

遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して

AnGes Report

26th

第26期 アンジェス通信

2024.1.1-2024.12.31



アンジェス株式会社
証券コード 4563

遺伝子医薬とゲノム編集技術の開発・実用化をとおして、 健康と希望にあふれた暮らしの実現を目指します

株主の皆様には、日頃から当社グループの事業にご支援を賜り、厚く御礼申し上げます。

当社は、遺伝子の働きを利用した「遺伝子医薬」の開発、実用化を目指し、研究開発を行っております。「遺伝子医薬」の創製をとおして、治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などで苦しんでおられる方々に希望をお届けしたいと願っております。

当社が創業以来開発を継続していますHGF遺伝子治療用製品は、米国で実施した後期第Ⅱ相臨床試験の結果が2024年6月に判明し、大変良いデータを確認いたしました。この結果から、米国FDAによりブレイクスルーセラピー(画期的新薬)に指定されました。今年は米国におけるHGF遺伝子治療用製品の開発を最優先で推進し、最短での承認を目指してまいります。

また、NF-κBデコイオリゴやTie2受容体アゴニストなど、現在進行中の臨床試験も今年中の投与完了を目指し、着実に開発を進めてまいります。

さらに、ACRLにおける検査事業も、拡大新生児スクリーニングの受託が順調に拡大しており、今後の更なる受託増に向けた準備を着実に進めてまいります。



代表取締役社長
山田 英

子会社であるEmendoBio社のゲノム編集技術につきましては、ライセンス先の開拓を進めながら、新たにスタンフォード大学との共同研究にも挑戦してまいります。

当社グループは、これからも遺伝子医薬の開発、実用化をとおして、また、ゲノム編集技術の実用化をとおして、治療薬の開発を待ち望んでおられる患者の方々をはじめ、ステークホルダーの皆様のご期待に応えるべく前進して参りたいと考えております。

最後に、株主の皆様の変わらぬご健勝をお祈りするとともに、引き続きご支援を賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。

HGF 遺伝子治療用製品

HGF GENE THERAPY PRODUCTS

◆ 米国での開発の状況

日本で先行して開発を行っていたHGF 遺伝子治療用製品は、2020年2月から米国で後期第Ⅱ相臨床試験の投与を開始いたしました。

米国での臨床試験では、日本国内の臨床試験と比較し、より症状の軽い下肢切断リスクの低い患者の方を対象として薬の投与量、投与回数も変えて試験を実施し、2023年3月に最後の投与を完了いたしました。

その後、1年間の観察期間を経て、2024年6月に試験結果が大変良い結果であったことがわかりました。臨床試験を主導した南カリフォルニア大学医学部のArmstrong教授は臨床試験の結果を論文にまとめ、2024年11月に開催された米国心臓学会(AHA)の学術セッションで臨床試験の結果を発表いたしました。

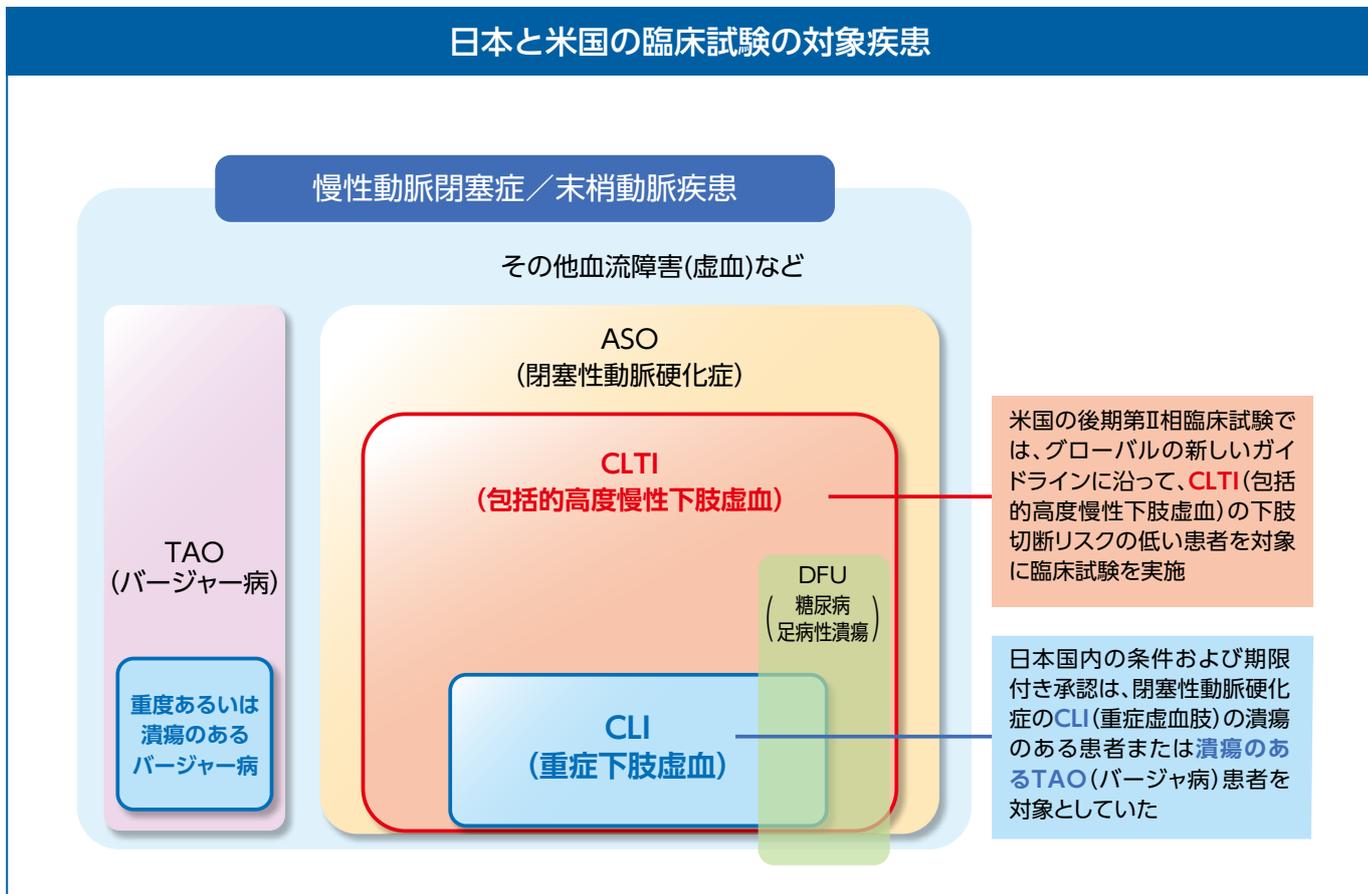
また、この臨床試験の結果が良好であったことから、米国食品医薬品局(FDA)により、画期的新薬(ブレイクスルーセラピー)に指定されました。

ブレイクスルーセラピーに指定されたことで、承認申請の審査が迅速に行われることや、通常の申請に比べ承認の確立が高いことがこれまでの実績から推測されます。

■ 投与方法や対象疾患の日米比較

日本における投与方法	4mgの薬剤を4週間隔で2回投与 観察期間は投与後12週
米国における投与方法	4mg又は8mgの薬剤を1か月間隔で4回投与 観察期間は投与後12か月

日本と米国の臨床試験の対象疾患





◆◆ 慢性動脈閉塞症、重症下肢虚血とは

HGF 遺伝子治療用製品の対象疾患である慢性動脈閉塞症とは、糖尿病などが原因で動脈硬化により下肢の動脈が狭窄・閉塞をきたして血液が十分に流れず、下肢の倦怠感や脱力・疼痛などが出現する疾患です。

その中でも重篤な症状は重症下肢虚血と呼ばれ、足に血液を供給する動脈が狭くなったり詰まったりすることで、足の潰瘍(皮膚の表面が炎症を起こしてくずれ、深いところまで傷ついた状態)や壊死(足の組織が死んでしまう)をきたし、場合によっては足を切断する必要があります。

米国では、重症下肢虚血の患者の5年後の死亡率は肺がんに次いで高いと言われています。

◆◆ 米国の臨床試験における患者の重症度

上記のように、慢性動脈閉塞症の症状が重篤となり、重症下肢虚血になってしまうと死亡率が高くなり、それだけ治療できる割合も下がってしまいます。これらを考慮した臨床試験の主導医師である Armstrong 教授たちは、軽度から中等度の慢性動脈閉塞症の患者を治療すべきであるという考えのもと、米国での臨床試験の対象患者を軽度から中等度の患者として臨床試験を実施しました。

その臨床試験の結果から、Armstrong 教授たちの考えが正しかったことが証明されました。

◆◆ 日本国内の開発販売戦略を変更

米国での臨床試験の結果を受け、日本国内における開発販売戦略を見直すことといたしました。

前述のとおり、日本においては重症下肢虚血を対象とした条件及び期限付き承認を取得していましたが、治療の効果が高い軽度から中等度の患者も対象として承認を取得することを検討することとなりました。そのため、当面は米国での承認取得を最優先とし、米国の進捗をふまえ、日本国内での承認申請の戦略を立ててまいります。



■ ACRL における検査事業

拡大新生児スクリーニング検査の受託数は順調に推移

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL) では、2021年より新生児の遺伝性疾患の有無を調べる「拡大新生児スクリーニング検査」を一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会 (CRARID) から受託しています。

これに加え2024年には、埼玉県や群馬県、沖縄県などの自治体(またはその関連団体)から直接受託をしており、2023年度は約2万件だった検査数が、2024年度には約5万件まで増えました。さらに、2025年には長野県からの受託も始まりました。

遺伝学的検査の対象疾患を拡大

ACRL では、上記「拡大新生児スクリーニング検査」に加え、特定の遺伝子に変異が起こっていないかを確認し、希少遺伝性疾患を確定するための「遺伝学的検査」も受託しています。2024年5月の早老症治療薬ゾキンヴィの発売に合わせ、その対象疾患であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 (HGPS) 及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー (PDPL) の遺伝学的検査受託を開始しており、今年度は、さらに拡大新生児マススクリーニング検査の対象疾患に関する遺伝学的検査についても提供できる体制を構築してまいります。

当社の開発パイプライン

プロジェクト	地域	導出先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験(治験)			承認審査	承認
							第I相	第II相	第III相		
HGF 遺伝子治療用製品 (ベベルミノゲンベラプラスミド)	日本	—	注射剤	慢性動脈閉塞症						準備中	
	米国	—	注射剤	慢性動脈閉塞症				完了	速報で 良好な結果	ブレイクスルーセラピー に指定	
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症							
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症							
NF-κB デコイオリゴDNA	日本	—	注射剤	腰痛症				実施中			
DNA ワクチン	豪州	—	注射剤	高血圧				完了			
DNA ワクチン	米国	—	経鼻投与	新型コロナウイルス感染症 (COVID-19)	完了				薬物搬送システムの 開発を完了		
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune (共同開発先)	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群				前臨床 試験中			
ソキンヴィ (ロナファルニブ)	日本	Sentyml (導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PDPL)*				導入品		オーファン・ ドラッグに指定	承認2024/1 2024/5より発売開始

* [HGPS]:ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / [PDPL]:プロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー

EmendoBio 社の開発パイプライン

プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE 関連重症先天性 好中球減少症				
		家族性高コレステロール血症・ 血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患				

会社概要

(2025年3月31日現在)

会社名 アンジェス株式会社(英文名:AnGes, Inc.)
 会社設立 1999年12月
 決算期 12月31日
 資本金 37,255百万円
 従業員数 55名(連結)
 事業内容 遺伝子医薬品の研究開発
 URL <https://www.anges.co.jp/>

所在地 〈本社〉
 〒567-0085
 大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号
 彩都バイオインキュベータ
 〈東京支社〉
 〒108-0014
 東京都港区芝四丁目13番3号 PMO 田町Ⅱ 9階

株主メモ

事業年度 1月1日～12月31日
 株主確定基準日 期末 12月31日
 中間 6月30日
 定時株主総会 毎年3月
 株主名簿管理人 三菱UFJ信託銀行株式会社
 特別口座の口座管理機関
 同連絡先 三菱UFJ信託銀行株式会社
 証券代行部
 東京都府中市日鋼町1-1
 電話 0120-232-711(通話料無料)
 郵送先 〒137-8081
 新東京郵便局私書箱第29号
 三菱UFJ信託銀行株式会社
 証券代行部

単元株式数 100株
 公告の方法 電子公告により行う。
 公告掲載URL <https://www.anges.co.jp/>
 (ただし、電子公告によることができない事故、その
 他のやむを得ない事由が生じたときは、日本経済新
 聞に公告いたします)
 上場証券取引所 東京証券取引所

(ご注意)

- 株主様の住所変更、単元未満株式の買取請求、その他各種お手続きにつきましては、原則、口座を開設されている口座管理機関(証券会社等)で承ることとなっております。口座を開設されている証券会社等にお問合せください。株主名簿管理人(三菱UFJ信託銀行)ではお取り扱いできませんのでご注意ください。
- 特別口座に記録された株式に関する各種お手続きにつきましては、三菱UFJ信託銀行が口座管理機関となっておりますので、左記特別口座の口座管理機関(三菱UFJ信託銀行)にお問合せください。なお、三菱UFJ信託銀行全国各支店においてもお取次ぎいたします。

広報・IR へのお問い合わせに関するご案内

当社へのお問い合わせは、当社ホームページのお問い合わせフォームからお願いします。ホームページに「よくあるご質問」を設けておりますので、そちらもご覧いただけますようお願いいたします。いただいたお問い合わせには、内容を精査した上で、当社ホームページ上でご回答させていただきます。何卒、ご理解いただけますようお願い申し上げます。

よくあるご質問

<https://www.anges.co.jp/faq/>

お問い合わせフォーム

<https://www.anges.co.jp/contact/>

ニュースリリースメール配信サービスのご紹介

当社の最新ニュースリリース、IR情報などをメールでお知らせするサービスです。こちらのQRコードよりお申し込みいただけます。(登録料無料) 当社ホームページ「IR情報」ページからもご登録いただけます。



▲詳しくはこちらから

