



アンジェス株式会社

2025年12月期 第2四半期 決算説明資料

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2025年8月

- ◆ 本資料には当社の現在の見通し、予想、目標、計画等を含む将来に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとに当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来予想に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績その他の結果は、将来予想に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。従って、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更又は訂正する一切の義務を当社は負いません。
- ◆ 上記のリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの取得承認、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。

## 1 2025年12月期 第2四半期決算の概要

## 2 2025年12月期 第2四半期 トピックス

- ① HGF遺伝子治療用製品
- ② NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA
- ③ Tie2受容体アゴニスト AV-001
- ④ ゾキンヴィ
- ⑤ ACRL
- ⑥ EmendoBio ゲノム編集技術

# 01

## 2025年12月期 第2四半期決算の概要

# 2025年12月期 第2四半期連結会計期間の業績

(単位：百万円)

|       | 2024年6月 | 2025年6月 | 増減     |
|-------|---------|---------|--------|
| 事業収益  | 347     | 414     | 67     |
| 事業費用  | 5,455   | 2,815   | △2,640 |
| 営業損益  | △5,107  | △2,400  | 2,707  |
| 営業外収支 | 1,917   | △1,498  | △3,415 |
| 経常損益  | △3,190  | △3,898  | △708   |
| 特別損益  | △227    | 0       | 227    |
| 当期純損益 | △3,500  | △3,966  | △465   |

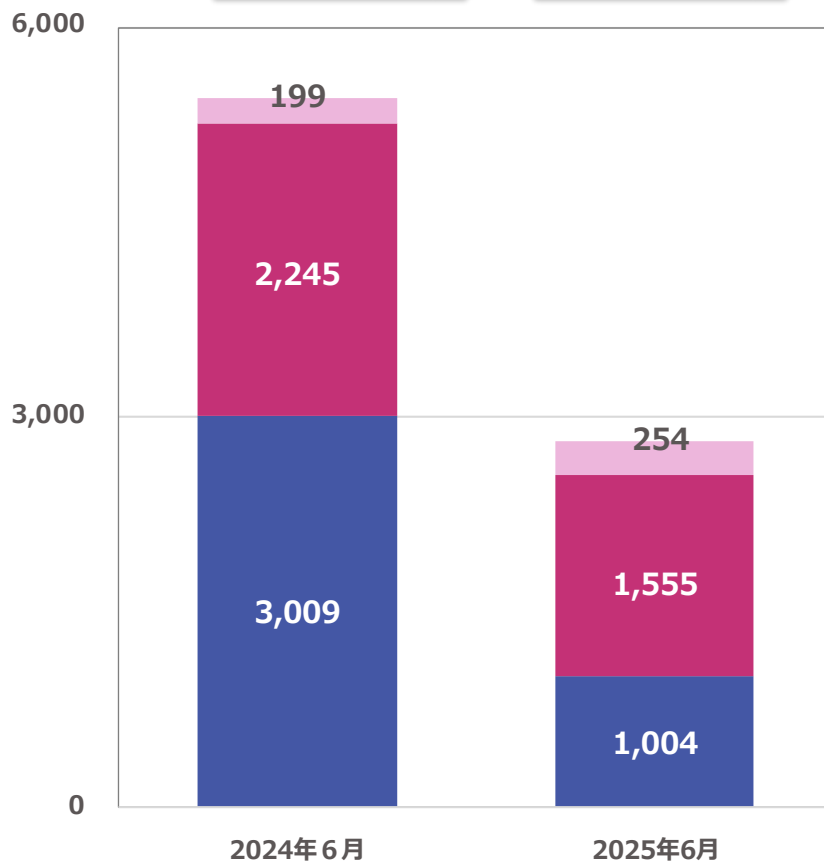
- ・当期の事業収益の増加は、検査受託サービスの受託数の順調な増加による
- ・事業費用は「のれん」の償却が無くなり減少し、営業損益は大幅に改善

# 事業費用の内容

(単位：百万円)

事業費用合計  
5,455百万円

事業費用合計  
2,815百万円



■ 販売費及び一般管理費 ■ 研究開発費 ■ 売上原価

売上原価：254百万円

(前年比 +55百万)  
「検査受託」の増加に伴い162百万円 (+70百万円)  
ゾキンヴィの商品原価92百万円 (△7百万円)

研究開発費：1,555百万円

(前年比 △689百万)  
研究材料費 前年比△529百万円  
Emendo社の事業再編成により 前年比△106百万円  
外注費 前年比△64百万円

販売費及び一般管理費：1,004百万円

(前年比 △2,005百万円)  
①Emendo関連の報酬 前年比△176百万円  
②支払手数料 前年比△86百万  
③のれん償却費 前年比△1,668百万

# 連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

|          | 2024年12月末 | 2025年6月末 | 増減    |
|----------|-----------|----------|-------|
| 流動資産     | 3,542     | 4,728    | 1,186 |
| うち現金及び預金 | 1,707     | 2,908    | 1,200 |
| 固定資産     | 1,125     | 1,057    | △68   |
| 総資産      | 4,668     | 5,786    | 1,117 |
| 負債       | 2,512     | 2,384    | △127  |
| 純資産      | 2,156     | 3,402    | 1,245 |

## 流動資産

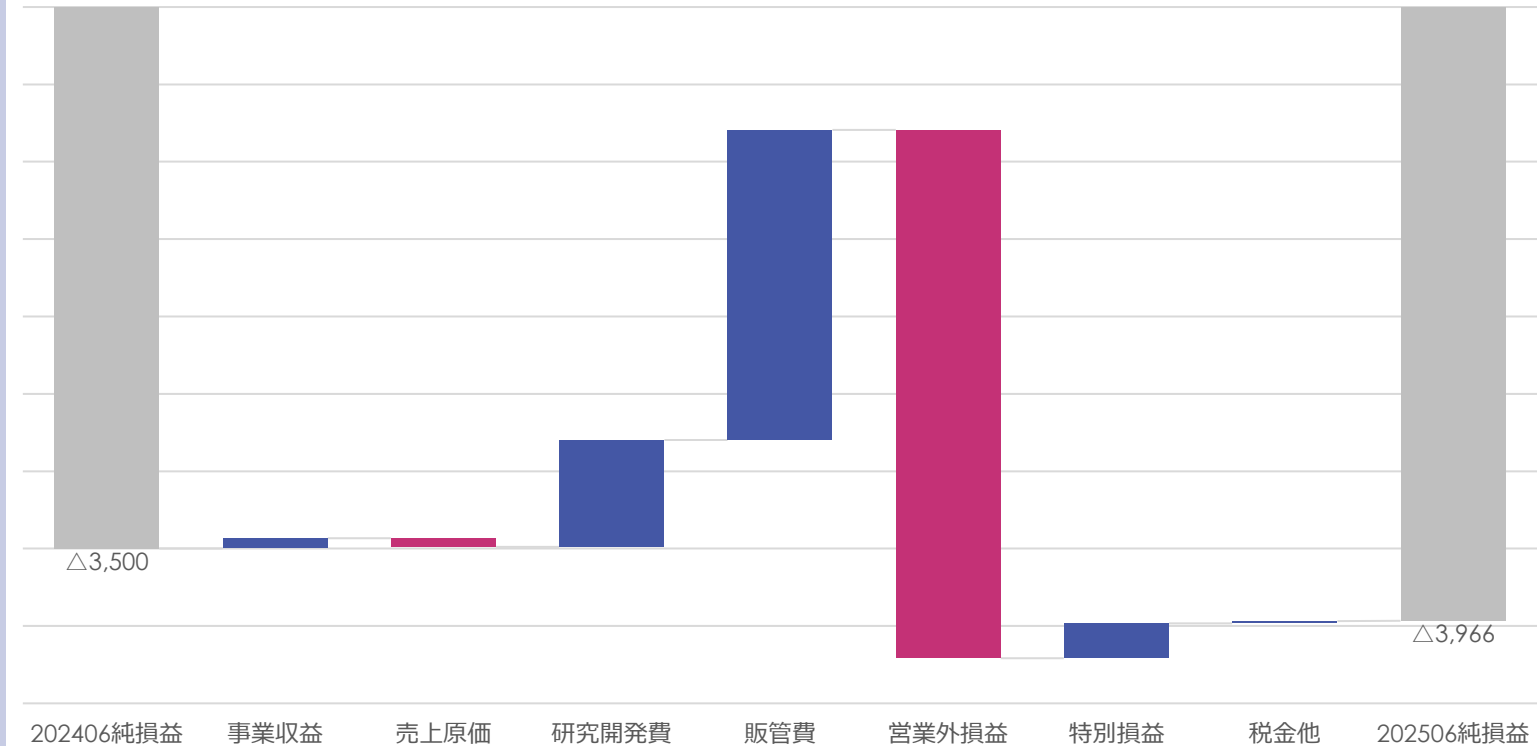
- 現預金 2,908百万円 (前年度末比+1,200百万円)  
第45回新株予約権による資金調達3,764百万円
- 商品 179百万円 (前年度末比△45百万円)
- 原材料及び貯蔵品 1,265百万円(前期末比+61百万円)

## 純資産

- 資本金/資本剰余金+1,895百万円
- 当期損失による利益剰余金 △3,966百万円

# 当期純損益の増減要因

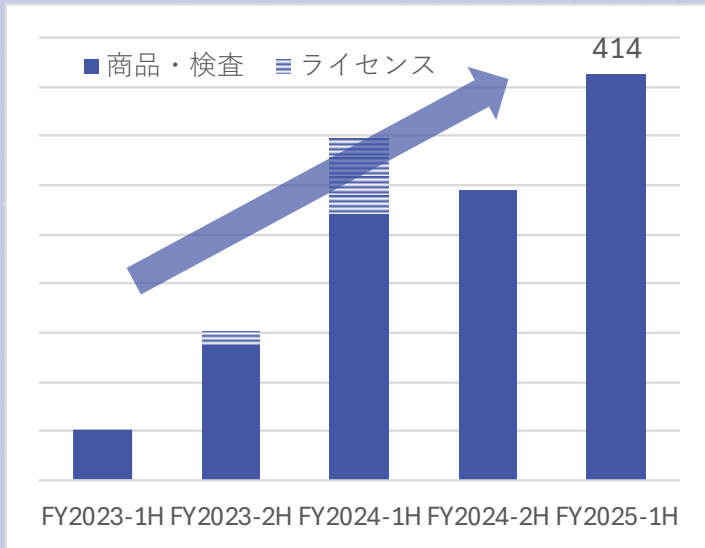
2025年度 第2四半期実績増減要因（前年同期実績比）



- ・「のれん」の償却が発生しなくなったことによる販管費の減少
- ・為替の影響により営業外損失が大きく影響

## 事業収益

単位：百万

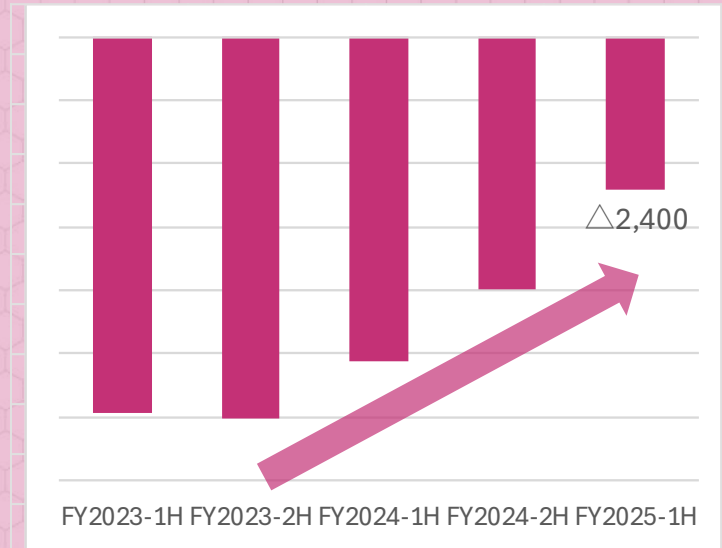


## 事業収益は増加

- ・ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数増加
- ・ゾキンヴィの販売は順調

## 営業損益

単位：百万



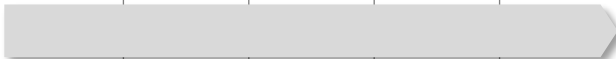
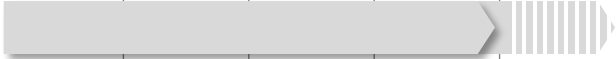
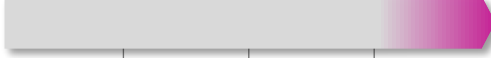
## 営業損益は改善

- ・Emendo社の事業再編に伴う費用の削減
- ・のれんの償却がなくなったことなどで収益改善が進む

02

2025年12月期 第2四半期 トピックス

# 当社開発プロジェクトの状況

| プロジェクト                        | 地域           | 導出先<br>提携先       | 剤形  | 適応症                       | 基礎研究                                                                                 | 非臨床<br>試験 | 臨床試験（治験） |     |     | 申請<br>審査                                                                            | 承認           |
|-------------------------------|--------------|------------------|-----|---------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------|-----------|----------|-----|-----|-------------------------------------------------------------------------------------|--------------|
|                               |              |                  |     |                           |                                                                                      |           | 第Ⅰ相      | 第Ⅱ相 | 第Ⅲ相 |                                                                                     |              |
| HGF遺伝子治療用製品<br>（ベベルミノゲンベラスミド） | 日本           | －                | 注射剤 | 慢性動脈閉塞症                   |    |           |          |     |     | 米国の進捗を見ながら検討                                                                        |              |
|                               | 米国           | －                | 注射剤 | 包括的高度慢性<br>下肢虚血<br>（CLTI） |    |           |          |     |     |  | BLAに向けた準備を開始 |
|                               | イスラエル<br>トルコ | Kamada<br>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 | 慢性椎間板性腰痛症                 |    |           |          |     |     |                                                                                     |              |
| DNAワクチン                       | オーストラリア      | －                | 注射剤 | 高血圧                       |   |           |          |     |     |                                                                                     |              |
| Tie2受容体アゴニスト                  | 米国           | Vasomune         | 注射剤 | 急性呼吸窮迫症候群（ARDS）           |  |           |          |     |     |                                                                                     |              |

## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1 HGF遺伝子治療用製品の進捗

2 NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3 Tie2受容体アゴニストの進捗

4 ゾキンヴィの販売

5 ACRLの検査受託

6 Emendo社のゲノム編集技術

## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3

Tie2受容体アゴニストの進捗

4

ゾキンヴィの販売

5

ACRLの検査受託

6

Emendo社のゲノム編集技術

# 米国における開発販売戦略について

HGF遺伝子治療用製品は、米国での早期承認に向けて臨床試験を完了とし  
生物製剤認可申請(BLA)の承認を目指し準備を進める

## 一般的な申請・承認の流れ



## HGFの米国での申請・承認の流れ



2027年の承認を目指す

# HGF遺伝子治療用製品の振り返り

## <日本>

2014年11月  
条件及び期限付き承認制度が施行

2018年1月  
条件及び期限付き承認制度を活用し  
製造販売承認を申請

2019年3月  
条件及び期限付き承認を取得

2019年9月  
田辺三菱製薬より販売開始

2023年5月  
製造販売本承認を申請

2024年6月  
本承認を申請の取り下げ※

※条件解除に向けた承認申請を取り下げたことに伴い、  
国内のコラテジェンの販売は終了となりました

米国での承認申請を優先しその進捗を見ながら  
今後の方針を検討

2014年

2019年

2023年

2024年

2025年

## <米国>

2014年～2016年

グローバル第Ⅲ相試験

米国、欧州、南米15か国を対象に、下肢切断リスクの高い  
患者を対象に500症例を目指したが、集積数未達により中止

2019年6月

新たなグローバル治療指針(GVG\*)公表

\*GVG-Global Vascular Guideline  
グローバルでの閉塞性動脈硬化症のうち、包括的高度慢性下肢虚血の治療方針

2020年2月

後期第Ⅱ相臨床試験の登録開始

2023年3月

後期第二相臨床試験の患者登録完了

2024年6月

後期第二相臨床試験の完了  
良好な結果を確認

2024年9月

FDAによりブレイクスルーセラピーに指定

2024年11月

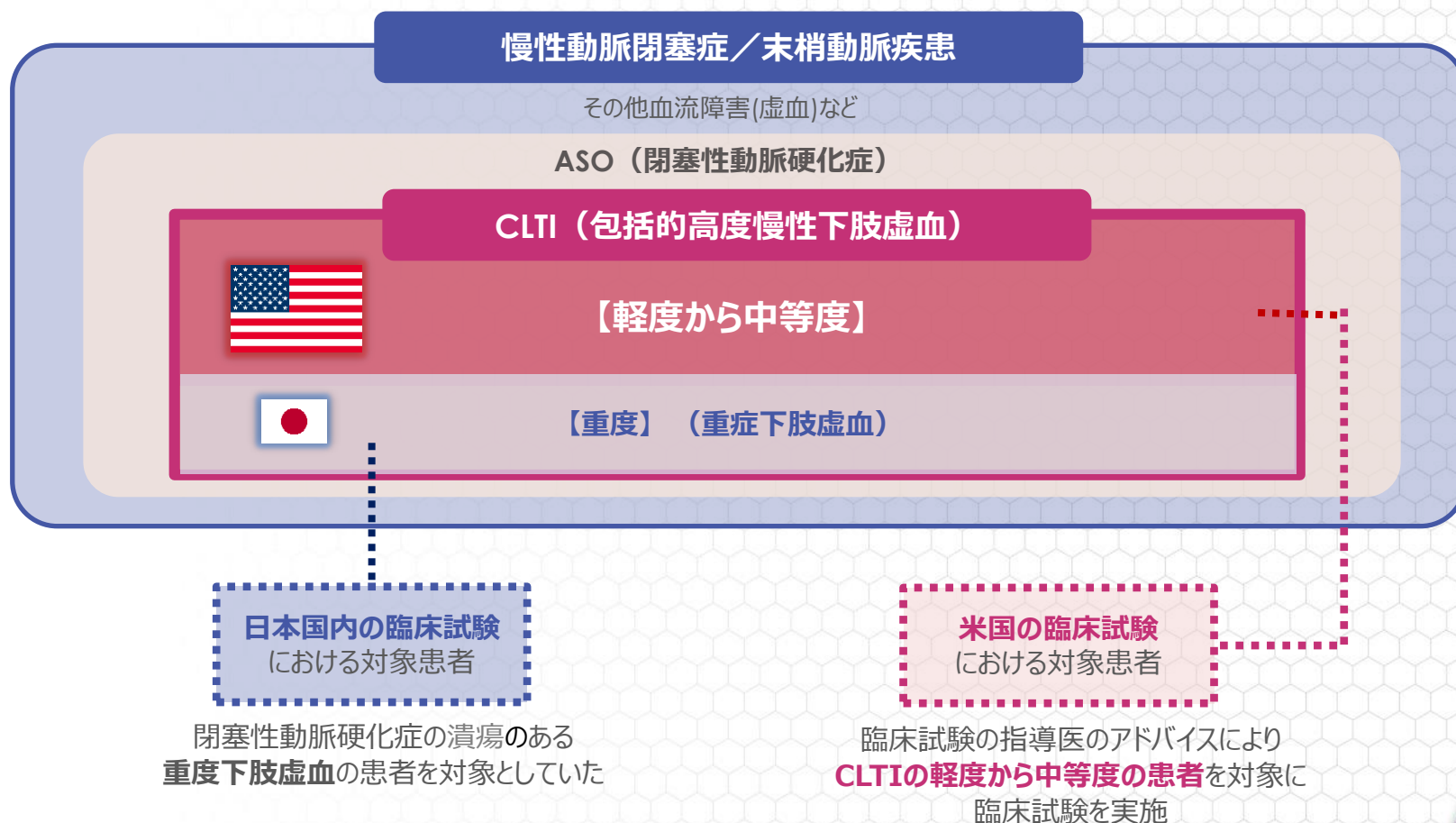
AHA学術セッションで臨床試験結果を発表

2025年 8月

臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請(BLA)  
の承認を目指し準備を進める

# 日本と米国の臨床試験における疾患の範囲

臨床試験の指導医の「重症化する前の患者を治療することが重要」というアドバイスにより  
米国ではCLTIの軽度から中等度の患者を対象として後期第Ⅱ相臨床試験を実施



## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3

Tie2受容体アゴニストの進捗

4

ゾキンヴィの販売

5

ACRLの検査受託

6

Emendo社のゲノム編集技術

# NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA

2025年に入り北米脊椎学会（NASS）が発行するThe SPINE JOURNALに  
2018 年 2 月より米国で椎間板性腰痛症の患者を対象とした  
後期第 I 相臨床試験の結果についての論文が掲載されました

## 【NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA 後期第 I 相臨床試験の結果】

- ・プラセボ群及び全ての AMG0103 投与群（0.3mg、3mg 又は 10mg）において、  
1 年間の観察期間を通して神経機能、感覚及び運動機能の低下は認められませんでした。  
重篤な有害事象も発現せず、安全性面の問題は認められませんでした。
- ・AMG0103 は腰痛に対して用量依存的な鎮痛効果を示し、  
特に最高用量の 10 mgでは最終観察期間の 1 年後には投与前と比較して平均 77%の痛みの軽減が認められました。
- ・プラセボ群では椎間板高は減少したのに対して、10mg 投与群では増加が認められ、形態的な改善が示唆されました。
- ・患者の満足度（PGIC）、日常生活動作の障害（RMDQ,ODI）でも改善が認められました。  
さらに、AMG0103 10mg 投与患者では、治験期間を通して鎮痛薬を追加投与された症例はなく、  
鎮痛効果が持続していることが示唆されました。

・ 臨床試験に参加した患者の77%で痛みが軽減し  
半数で痛みがほぼ完全に消失しました

・ 椎間板の高さが、投与前から改善していることから  
傷んだ椎間板も回復が示唆されました

## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3

Tie2受容体アゴニストの進捗

4

ゾキンヴィの販売

5

ACRLの検査受託

6

Emendo社のゲノム編集技術

## Tie 2 受容体アゴニスト (AV-001)

急性呼吸窮迫症候群（ARDS）の治療薬として  
米国FDAよりFast Trackの指定を受ける

### Fast Trackとは

重篤な疾患に対する治療薬やアンメットメディカルニーズに対する薬剤を優先的に審査する制度

有用性が期待される医薬品をより早く患者に届けることを目的としています

### Fast Trackのメリット

FDAとのより頻繁な会議やコミュニケーション

迅速承認と優先審査

全てのデータが揃う前に承認申請を行い五月雨式の審査を受けることが可能

北米におけるインフルエンザ流行期間が短かったことなどから  
**2025年後半の目標症例数登録完了を目指します**

## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1 HGF遺伝子治療用製品の進捗

2 NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3 Tie2受容体アゴニストの進捗

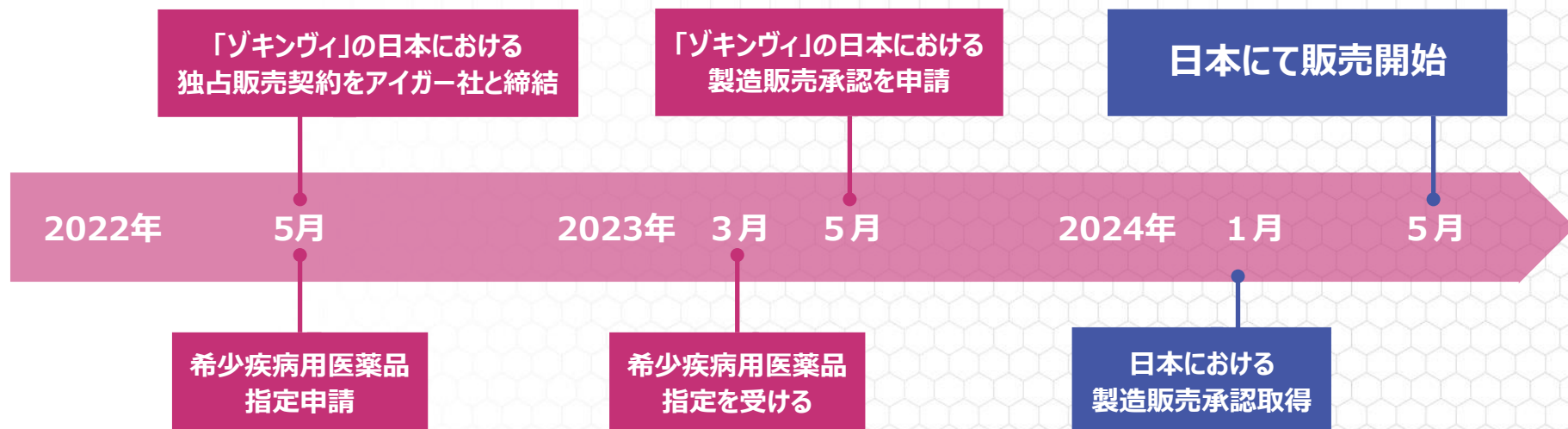
4 ゾキンヴィの販売

5 ACRLの検査受託

6 Emendo社のゲノム編集技術

# ゾキンヴィについて

## 2024年5月27日 販売開始



### ゾキンヴィ(ロナファルニブ)



#### 【薬価】

左 91,796.40円／ゾキンヴィカプセル50mg (1カプセル)  
 右 136,544.00円／ゾキンヴィカプセル75mg (1カプセル)

#### 【効能、効果又は性能】

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

#### <用法及び用量又は使用方法>

ロナファルニブとして開始用量115 mg/ m<sup>2</sup>  
 (体表面積)を 1日2回、朝夕の食事中又は食直後に経口投与  
 し、4か月後に維持用量150 mg/m<sup>2</sup>(体表面積)を1日2回、  
 朝夕の食事中又は食直後に経口投与する。  
 なお、患者の状態に応じて適宜減量する。

## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3

Tie2受容体アゴニストの進捗

4

ゾキンヴィの販売

5

ACRLの検査受託

6

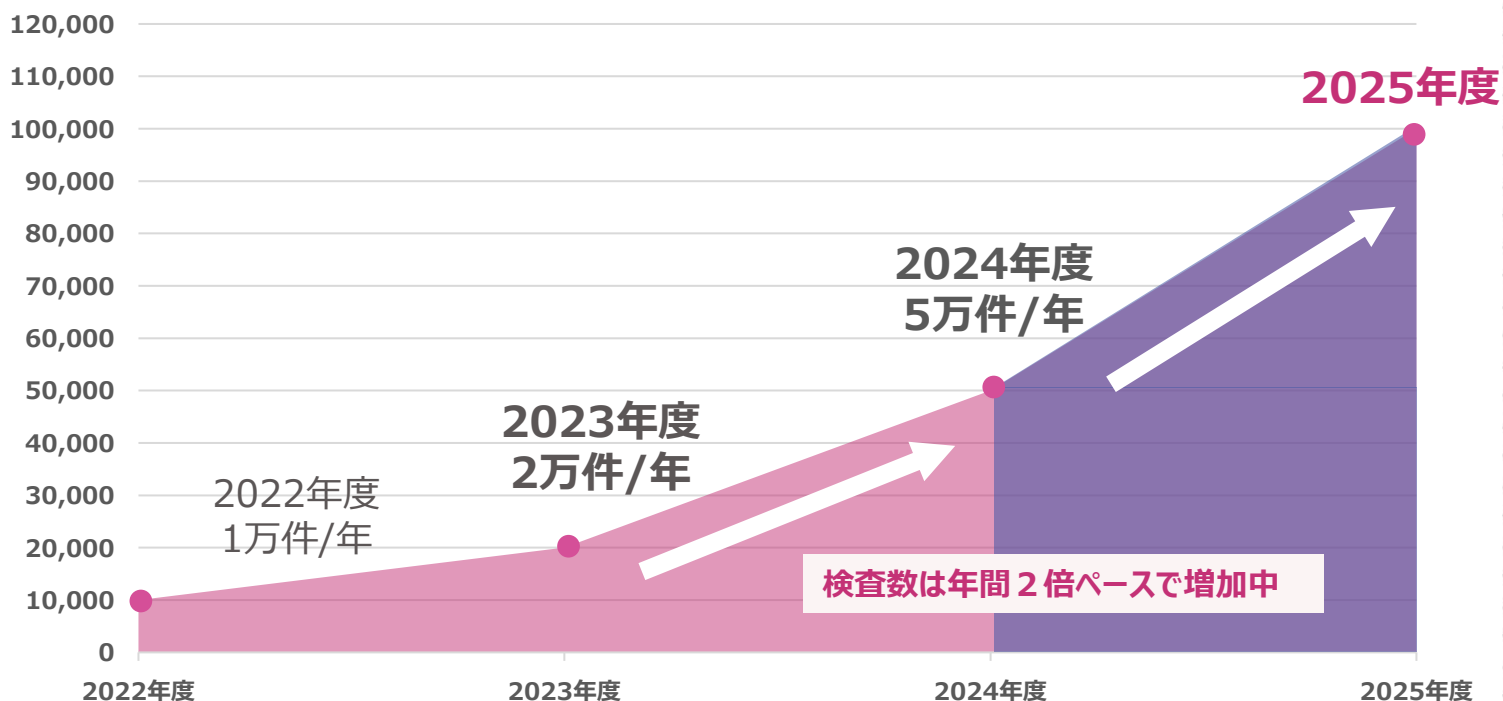
Emendo社のゲノム編集技術

# ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の状況

拡大新生児スクリーニング検査数は継続して増加中

2024年度は約5万件を受託

2025年度も受託数は倍増の見込み



引き続き、受託先の拡大と検査対象疾患の拡大に取り組む

# バイオマーカー検査の受託準備中

## 希少遺伝性疾患検査

### スクリーニング検査

新生児に  
遺伝性疾患の可能性があるかを  
検査

### 遺伝学的検査 (確定検査)

スクリーニング検査で  
疾患の可能性があると判断された場合、  
疾患の有無を確定させる

2024年5月より

### バイオマーカー検査 (治療効果のモニタリング)

治療開始後、  
治療効果・改善状況を判断  
するためのデータ提供

今秋の受託開始に向け準備中

### 新生児マス・スクリーニング（公的マス）

- ・日本出生の全新生児に無償で実施（自治体負担）
- ・先天性代謝異常症（フェニルケトン尿症など）や  
内分泌疾患（先天性甲状腺機能低下症など）

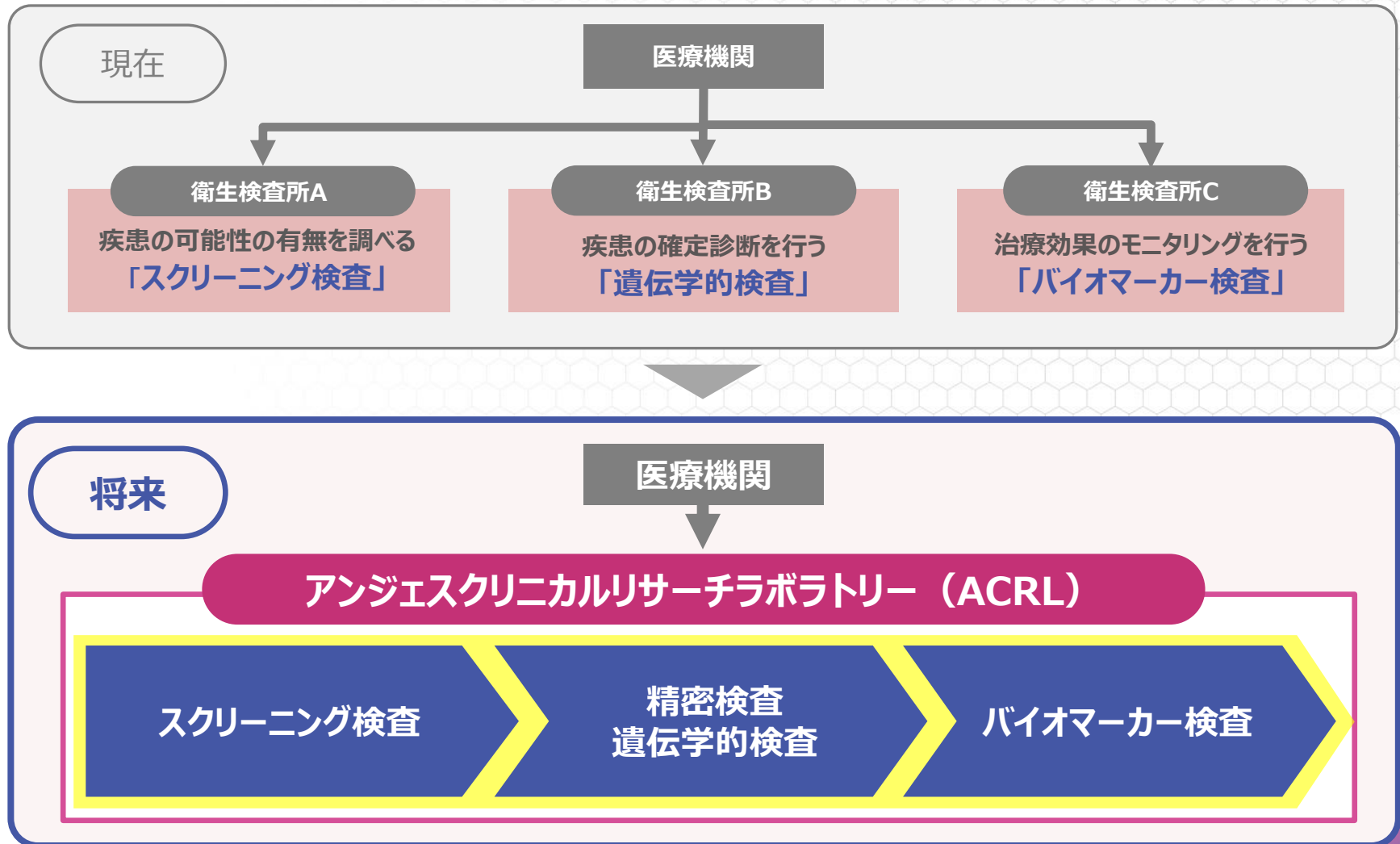
### 拡大新生児スクリーニング

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患  
（ポンペ病、ムコ多糖症等）

2021年4月より

# 希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供

ACRLでは、希少遺伝性疾患に関する各種検査を一貫して提供できる体制構築を目指します



## 2025年12月期 第2四半期 トピックス

1

### HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

### NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの進捗

3

### Tie2受容体アゴニストの進捗

4

### ゾキンヴィの販売

5

### ACRLの検査受託

6

### Emendo社のゲノム編集技術

# スタンフォード大学との共同研究

Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼを使用し  
スタンフォード大学と新規がん治療法の共同研究開発を開始

## EmendoBio

従来型のCas9よりも正確で  
効率的なゲノム編集が可能な  
OMNIヌクレアーゼ

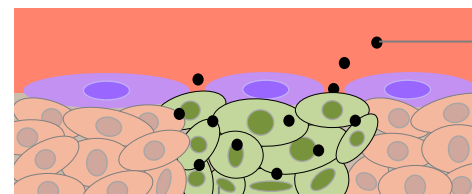


emendo<sup>bio</sup>

+

## Stanford University

がん組織特異的に薬剤を  
送り込む技術



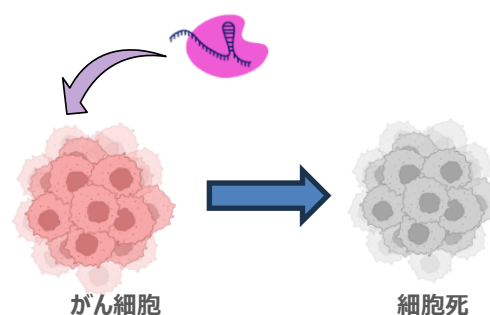
がん細胞



## 乳がんを標的とした新規がんゲノム編集治療法の開発

スタンフォード大学では、がん組織特異的薬剤送達技術、がん放射線療法及びがん免疫療法等の新しいがん治療法の開発において先進的な研究を行ってきております。Emendo社のOMNIヌクレアーゼを使ってがん細胞特異的にゲノム編集を行い、がん細胞の治療抵抗性を低下させることにより、がん細胞のみを死滅させる治療法を開発します。

OMNIヌクレアーゼ



「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



アンジェス ホームページ  
<https://www.anges.co.jp>