

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 中間期アンジェス通信

2024.1.1-2024.6.30



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。

そして、当社の事業目的である「治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などを対象にした革新的な医薬品の開発を通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献すること」に合致する製品として、早老症治療薬「ゾキンヴィ」の製造販売承認を本年1月に取得し、5月27日に発売することができました。

また、当社が設立以来開発に取り組んでいる「コラテジェン」は、米国における後期第Ⅱ相臨床試験の速報データで良好な結果が確認されました。これに伴い、国内における販売戦略を見直し、これまで以上に幅広い症状の患者の方に使用していただけるよう、新たな申請を行うことを決定いたしました。

代表取締役社長 山田 英



さらに、子会社であるEmendoBio社の開発したOMNIヌクレアーゼをスウェーデンのバイオ企業Anocca社にライセンスし、Anocca社の開発する固形がんの治療薬開発に利用されることとなりました。

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、よろしく願い申し上げます。

早老症治療薬ゾキンヴィ

国内において5/27発売

ゾキンヴィは、早老症の一種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) の治療薬で、2024年5月27日に当社が日本国内で発売いたしました。

HGPS及びPDPLとは

HGPSとPDPLは、それぞれが大変希少な致死性の遺伝的早老症で、若い時点から死亡率が加速度的に上昇します。HGPSは、LMNA 遺伝子の点突然変異により、ファルネシル化(*)された変異タンパク質であるプロジェリンが生成されることにより発症します。PDPLは、LMNAやZMPSTE24遺伝子の変異により、プロジェリンに類似したファルネシル化タンパク質が生成され、老化が促進されます。いずれの病型ともに、深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、関節拘縮、骨格形成不全、動脈硬化の促進などの早老症状が現れ、動脈硬化性疾患(心筋梗塞あるは脳卒中)により若年期に死亡するとされ、HGPSの平均年齢は14.5歳と報告されています。

*ファルネシル化:タンパク質に行われる修飾の一種です。ファルネシル化酵素により、タンパク質の末端にはファルネシルが結合します。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分細胞膜内に挿入するため、タンパク質は細胞膜あるいは核膜の内膜につなぎ留められます。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞あるいは核の上に代謝を受けず存在するようになります。

HGPS並びにPDPLへの取り組み

当社は、国内販売に伴い、アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL) で、HGPS及びPDPL診断のための遺伝学的検査を受託できる体制を構築し、受託を開始いたしました。

記者説明会を実施

当社は、ゾキンヴィの発売にあわせ、6月18日にゾキンヴィ及びその対象疾患であるHGPS、PDPLについて、報道関係者を対象に説明会を開催いたしました。

この説明会には、HGPS、PDPL研究、治療の第一人者である大分大学医学部教授の井原健二先生と佐賀大学医学部教授の松尾宗明先生にもご登壇いただき、これらの疾患やその治療に関する講演をしていただきました。

当日は、30名を超える記者の方々にご参加いただき、HGPSやPDPLの疾患やその治療に関する詳細な説明があり、また、日本におけるドラッグラグ、ドラッグロスの問題についても触れられ、日本においても海外と遜色のない薬価となったことで、今後のドラッグラグ、ドラッグロスの解消に向けた事例になるとの期待が述べられました。



HGF 遺伝子治療用製品コラテジェン

開発販売戦略を変更

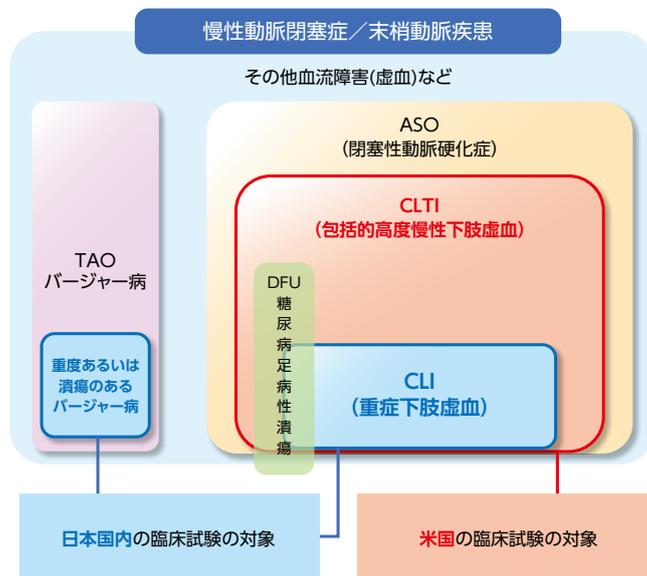
HGF 遺伝子治療用製品コラテジェンは、慢性動脈閉塞症の治療薬として当社が創業以来手掛けてきたプロジェクトで、日本国内においては、2019年3月に条件及び期限付き承認を取得し、同年9月より販売してきました。一方、米国においても後期第Ⅱ相臨床試験の症例登録を2023年3月に完了し、この度、臨床試験データの速報値において良好な結果を確認しました。

日本においては、閉塞性動脈硬化症の重度の患者を対象としておりましたが、米国において、軽度から中等度の患者においても有効性が確認されました。また、投与方法についても、日本と米国では異なる条件で臨床試験を実施いたしました。

今回の米国の臨床試験の結果と、過去に日本において実施した第Ⅲ相臨床試験の結果を総合的に分析し、今後日本においても、改めて重症度を問わず幅広く閉塞性動脈硬化症の潰瘍を対象として承認申請を行うべく検討を進め、準備を進めてまいります。

日本における投与方法	4mgの薬剤を4週間隔で2回投与
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

日本と米国の臨床試験の対象疾患



EmendoBio社のゲノム編集

EmendoBio社は、独自の技術を駆使して高精度の遺伝子編集を可能にするOMNIヌクレアーゼを多数開発しています。

■ Anocca社とライセンス契約を締結

EmendoBio社は、ゲノム編集における課題である「オフターゲット効果」を回避できる独自のOMNI-A4ヌクレアーゼの非独占的使用権をスウェーデンのバイオ企業Anocca社に供与することといたしました。

Anocca社は、OMNI-A4ヌクレアーゼを使用し、固形がんにおける細胞の増殖にかかわるKRASタンパク質の変異を標的としたT細胞受容体改変T細胞(TCR-T)療法の開発を進めることになります。

■ Anocca社とは

固形癌に対するTCR-T療法を開発する総合バイオ医薬品企業です。創薬プラットフォーム技術の実用化に向け、第1号開発品の臨床入りを目指しています。

■ T細胞受容体改変T細胞(TCR-T)療法とは

TCR-T療法は、患者さん由来のT細胞を採取して、その患者さんのがんを攻撃するように遺伝子改変したT細胞を患者さんに投与するものです。同様のT細胞療法でCAR-T細胞療法がありますが、CAR-T細胞療法は血液がんの治療に使用されます。TCR-T細胞療法は今までにCAR-T細胞療法では適用できなかった多くのがん患者さんが罹患している固形がんを治療できることが強みです。

がんの治療法		がんの種類と治療方法	
手術療法(外科治療)	免疫療法 患者さん自身が持っている免疫細胞の一つであるT細胞を採取してがんと戦うように強化して体に戻す治療法 ↓ 正常な組織が攻撃される心配がない	血液のがん 造血組織の異常によって発生したものがたまりを増やす(白血病、悪性リンパ腫、骨髄腫など)	CAR-T細胞治療 CAR-T細胞療法はキメラ抗原受容体を遺伝子改変技術によりT細胞に導入し、体外で増殖させて患者に輸注する治療法です。CAR-Tは血液がんでは大きな成功を収めていますが、細胞表面の抗原しか認識することができないため、固形がんには適用するには課題があります。CAR-T細胞療法はキメラ抗原受容体を遺伝子改変技術によりT細胞に導入し、体外で増殖させて患者に輸注する治療法です。CAR-Tは血液がんでは大きな成功を収めていますが、細胞表面の抗原しか認識することができないため、固形がんには適用するには課題があります。
薬物療法(抗がん剤など)		固形がん がん細胞が集まってできたものがたまりを増やす ・周囲にしみ込むように増える ・飛び火して新しいがんのかたまりを作る(肺癌、肺がん、大腸がん、食道がんなど)	TCR-T細胞治療 細胞内に存在するがん関連抗原を認識するTCR受容体を発現させた人工T細胞(TCR-T細胞)はCD19 CAR-Tに代表される血液腫瘍を狙ったCAR-Tとは異なり、固形がんへの適用が可能です。手術不能な難治性固形がんに対する副作用の少ない治療法として大きな注目を集めています。
放射線療法			

ACRLにおける検査事業

当社が運営しているアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(ACRL)では、日本で生まれた赤ちゃん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(CReARID)から受託しています。この検査は、生まれて間もない赤ちゃんのかかとかからほんの少しの血液を採取して、9種類の希少遺伝性疾患の可能性の有無を調べます。拡大新生児スクリーニング検査の対象疾患は、発症前に病気を発見し、治療を開始することで発症を防いだり、症状を軽減することができることから、当社は拡大新生児スクリーニングの普及にも積極的に取り組んでおり、受託数も順調に増加しています。

■ 公費負担によるSMAとSCIDのスクリーニング検査受託に向け準備中

ACRLで実施している拡大新生児スクリーニング検査の対象疾患である「脊髄性筋萎縮症(SMA)」と「重症複合免疫不全症(SCID)」が、公費負担で実施されている「マススクリーニング検査」に追加されることとなり、一部の自治体で実証事業として開始されています。ACRLでは、「拡大新生児スクリーニング検査」においてこれらの疾患検査に実績があることから、複数の自治体から検査の相談をいただき、受託に向けた準備を進めています。

■ 遺伝学的検査の受託開始

当社が今年5月27日に発売した早老症治療薬「ゾキンヴィ」では、対象疾患であるHGPS又はPDPLの診断のために遺伝学的検査が必要となります。ACRLでは、HGPS及びPDPLの遺伝学的検査を受託できる体制を構築し、受託を開始しました。また、今後は、治療状況の確認等に必要バイオマーカー検査の体制構築も進めていきます。

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(治療)			承認審査	承認
							第I相	第II相	第III相		
HGF遺伝子治療用製品 (ベクミン/グンベラ/ラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症						承認中	
	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症					完了	速報で良好な結果	
NF-κB デュオオリゴ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)		実施中					
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及び急性呼吸器症候群						試験実施中	
ゾキンヴィ (ロナファルニブ)	日本	Sentynt (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

* HGPS:ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / PDPL:プロセッシング不全性のプロジェイド・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関連遺伝性先天性好中球減少症				
		遺伝性骨髄嚢腫・血球学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患				

会社概要

(2024年6月30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 35,990百万円
従業員数 62名(連結)
事業内容 遺伝子医薬品の研究開発・検査受託
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)

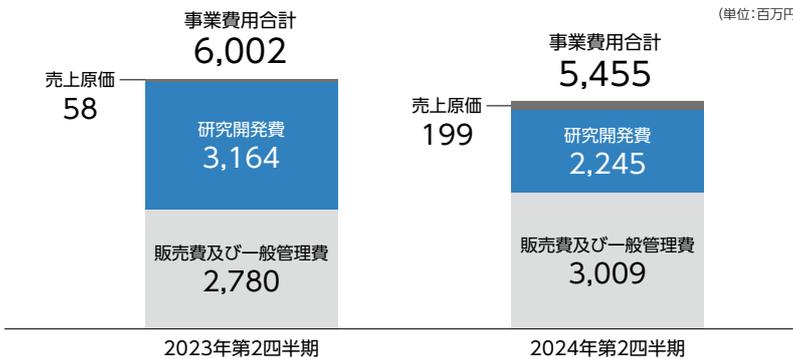
- 株主様の住所変更、単元未満株式の買取請求、その他各種手続きにつきましては、原則、口座を開設されている口座管理機関(証券会社等)で承ることとなります。口座を開設されている証券会社等にお問合せください。株主名簿管理人(三菱UFJ信託銀行)ではお取り扱いできませんのでご注意ください。
- 特別口座に登録された株式に関する各種手続きにつきましては、三菱UFJ信託銀行が口座管理機関となっておりますので、左記特別口座の口座管理機関(三菱UFJ信託銀行)にお問合せください。なお、三菱UFJ信託銀行全国各支店においてもお取次ぎいたします。

連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2023年12月期 中間期	2024年12月期 中間期
事業収益	51	347
営業損益	△5,951	△5,107
経常損益	△4,776	△3,190
当期純損益	△4,830	△3,500

	2023年 12月期末	2024年12月期 中間期末
総資産	28,892	27,675
純資産	26,103	25,477
現金及び現金同等物の 期末残高	4,160	1,820



- ACRLで受託している拡大新生児スクリーニングが順調に増加していることから事業収益が296百万円増加しました。
- 検査受託サービスの増加により、売上原価が141百万円増加し、EmendoBio事業再編成などから、研究開発費が918百万円減少し、円安による為替の影響でのれん償却額が増加したことなどにより、販売費及び一般管理費が2億29百万円増加いたしました。

*財務情報の詳細は、当社ホームページをご参照ください。◎<https://www.anges.co.jp/ir/>

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

Information

ご回答いただいた株主様の中から抽選で300名様にQuoカードが当たるアンケートを実施いたします。同封の「株主様アンケートサイト[Engagement Portal]のご案内」にあるQRコードからご回答ください。(2024年9月20日まで)

