



アンジェス株式会社  
2026年12月期 第2 四半期決算説明資料



2026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。



# 01

## 2026年12月期 上期決算の概要

# 2026年12月期 上期の業績

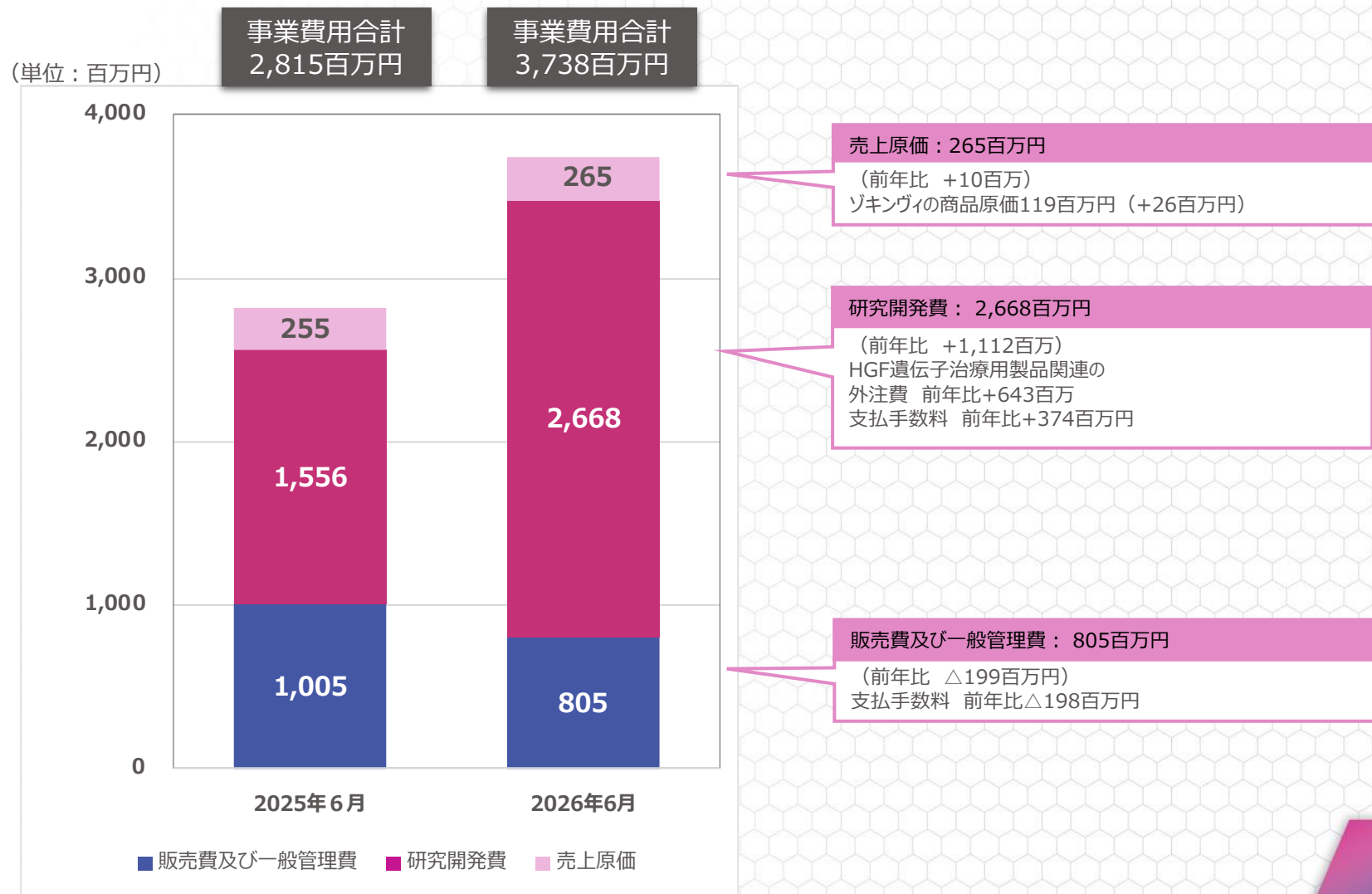
(単位：百万円)

|       | 2025年6月 | 2026年6月 | 増減    |
|-------|---------|---------|-------|
| 事業収益  | 414     | 502     | 87    |
| 事業費用  | 2,815   | 3,738   | 923   |
| 営業損益  | △2,400  | △3,236  | △835  |
| 営業外収支 | △1,498  | 675     | 2,173 |
| 経常損益  | △3,898  | △2,560  | 1,338 |
| 特別損益  | 0       | △58     | △58   |
| 当期純損益 | △3,966  | △2,714  | 1,251 |

- ・ 当期の事業収益の増加は、**ゾキンヴィの増加**による
- ・ 事業費用はHGF遺伝子治療用製品のBLA\*申請準備のための**研究開発費が大きく増加**
- ・ 営業外収支は為替変動により**大幅に改善**

\*BLA:生物製剤認可申請

# 事業費用の内容



# 連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

|          | 2025年6月末 | 2026年6月末 | 増減     |
|----------|----------|----------|--------|
| 流動資産     | 4,386    | 2,619    | △1,766 |
| うち現金及び預金 | 1,882    | 281      | △1,600 |
| 固定資産     | 1,019    | 1,040    | 21     |
| 総資産      | 5,405    | 3,660    | △1,745 |
| 負債       | 2,329    | 3,454    | 1,124  |
| 純資産      | 3,076    | 205      | △2,870 |

## 流動資産

- 現預金 281百万円（前年度末比△1,600百万円）  
資金調達1,178百万円

## 固定資産

- 固定資産 1,040百万円（前期末比+21百万円）

## 負債

- 買掛金 956百万円（前年度末比+413百万円）
- 未払金 549百万円（前年度末比+315百万円）
- 社債 591百万円（前年度末比+591百万円）

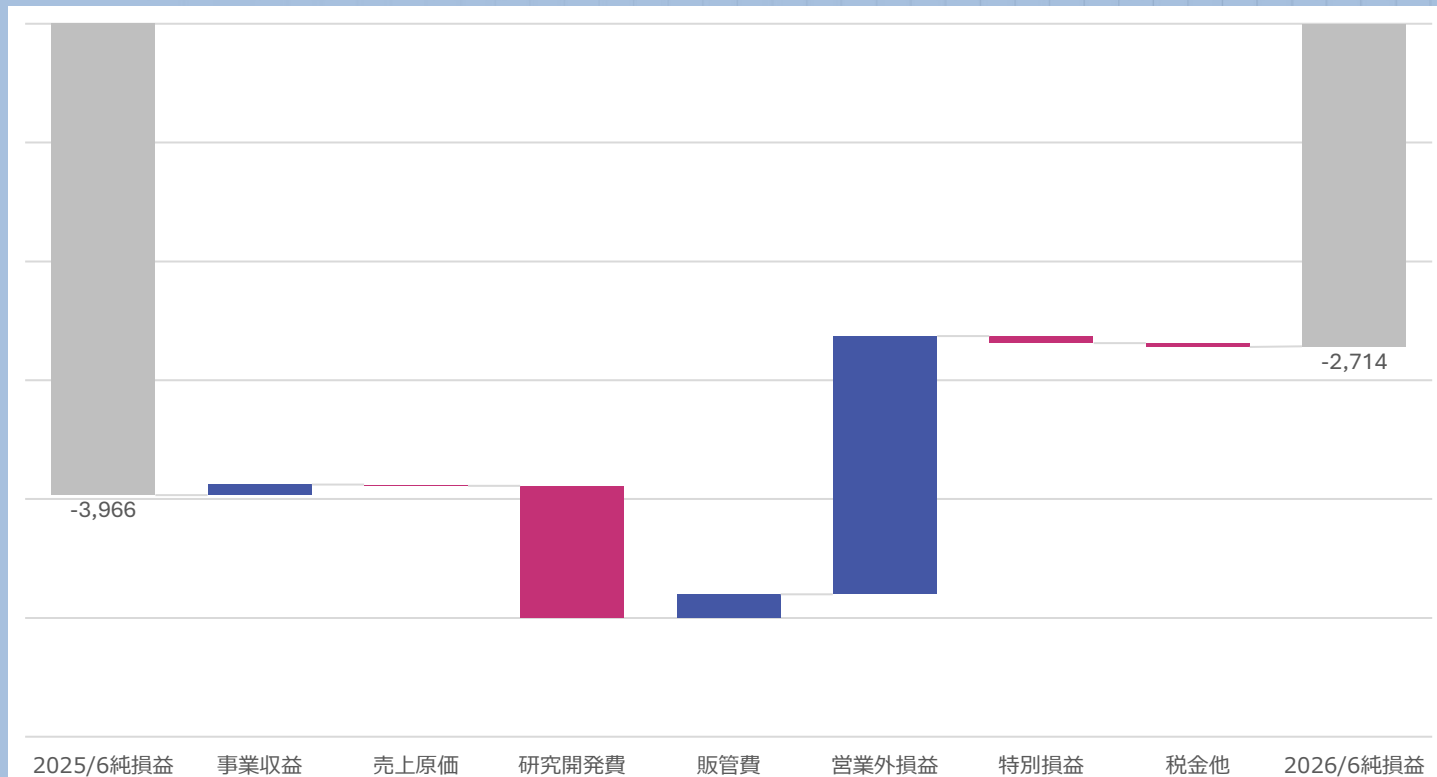
## 純資産

- 資本金 40,499百万円（前期末比+270百万円）
- 資本剰余金 8,746百万円（前期末比+270百万円）
- 利益剰余金 54,396百万円（前期末比△2,714百万円）

# 当期純損益の増減要因

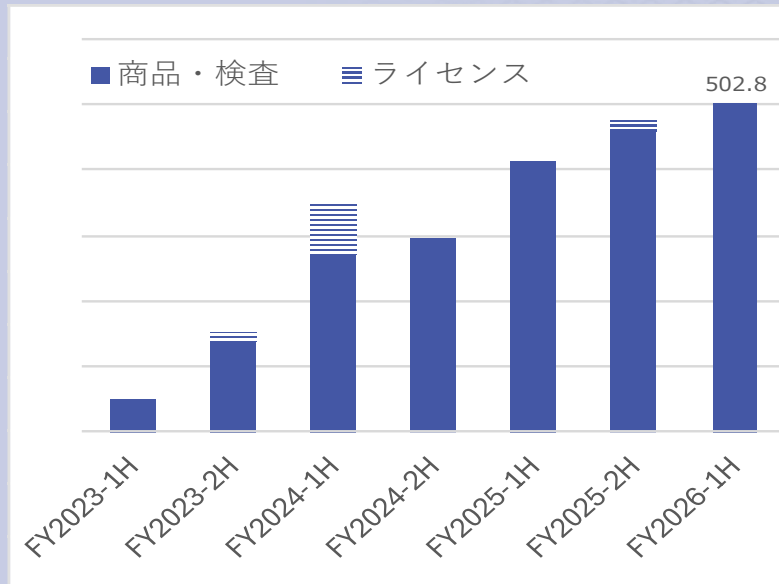
## 2026年6月実績増減要因（2025年6月比）

単位：百万円





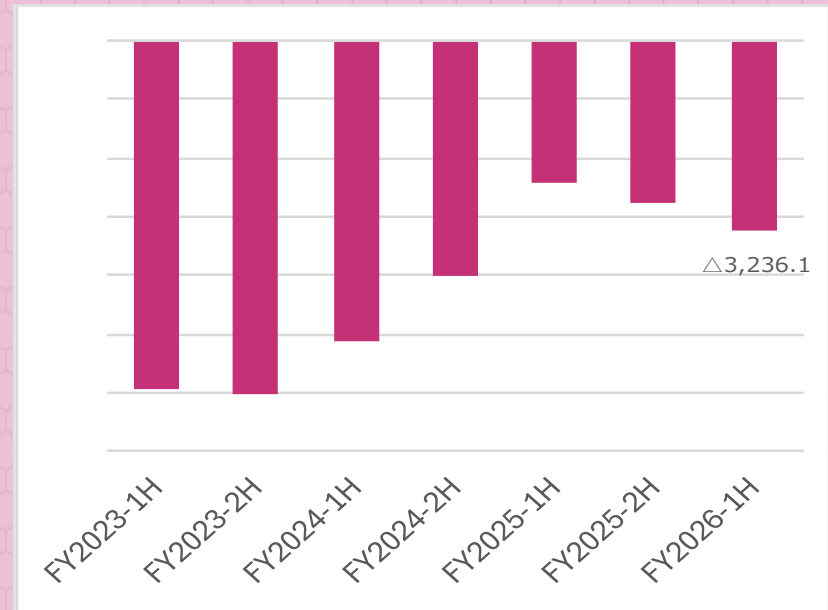
## 事業収益



## 事業収益は増加

- ・ゾキンヴィの販売が増加
- ・ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数は横ばい

## 営業損益



## 米国での申請準備により営業損失は拡大

- ・HGF遺伝子治療用製品の米国でのBLA申請準備のための費用と上市後の製品のための原薬製造費により研究開発費が増加



# 02

## 2026年12月期 上期主要トピックス

# 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>（ベベルミノゲンベリプラスミド） | 日本           | －                | 注射剤 | 慢性動脈閉塞症                   | <div></div> |           |          |             |     | 米国の進捗を見<br>ながら検討 |    |
|                                 | 米国           | －                | 注射剤 | 包括的高度慢性<br>下肢虚血<br>（CLTI） | <div></div> |           |          | <div></div> |     | BLAに向け<br>準備中    |    |
|                                 | イスラエル<br>トルコ | Kamada<br>Er-Kim | 注射剤 | 慢性動脈閉塞症                   | <div></div> |           |          |             |     |                  |    |
| NF-κBデコイオリゴDNA                  | 日本           | －                | 注射剤 | 慢性椎間板性<br>腰痛症             | <div></div> |           |          |             |     |                  |    |
| DNAワクチン                         | オーストラリア      | －                | 注射剤 | 高血圧                       | <div></div> |           |          |             |     |                  |    |
| Tie2受容体アゴニスト                    | 米国           | Vasomune         | 注射剤 | 急性呼吸窮迫<br>症候群（ARDS）       | <div></div> |           |          |             |     |                  |    |

## 2026年12月期 上期トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの状況

3

Tie2受容体アゴニスト(AV-001)の状況

## 2026年12月期 上期トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの状況

3

Tie2受容体アゴニスト(AV-001)の状況



# HGF遺伝子治療用製品のFY2026- 1 Hの主な進捗

## トピック① FDAとのType B Meeting 完了

米国FDAと、1月にBLA申請に向けたType B Clinical Meetingに続き、5月にType B CMC Meetingを実施しBLA申請に関する申請方針について合意を得る

## トピック② 米国における名称COLLATEGENEの使用を確認

FDA及び米国特許商標庁において、「COLLATEGENE®」が使用可能であることを確認  
米国採用名称評議会「beperminogene perplasmid」（ベペルミノゲン・ペルプラスミド）を本製品の一般名（非専有名称）として採用

## トピック③ FDAとのPre-BLA Meetingは開催不要

Pre-BLA Meetingに先立ちFDAへの書面による質問により十分な回答が得られ、当社が計画しているBLA提出パッケージについても確認が得られたことから、Pre-BLA Meetingは不要であることが確認され、Rolling Submissionに進むこととなった

# FDAにおける生物製剤の申請プロセス

米国の第2相臨床試験(P2)の良好な結果を受けてFDAと協議し臨床試験を完了  
BLA申請前の手続きが完了し、BLA申請に進む

## 通常の生物製剤の申請プロセス



## HGF遺伝子治療用製品の申請プロセス



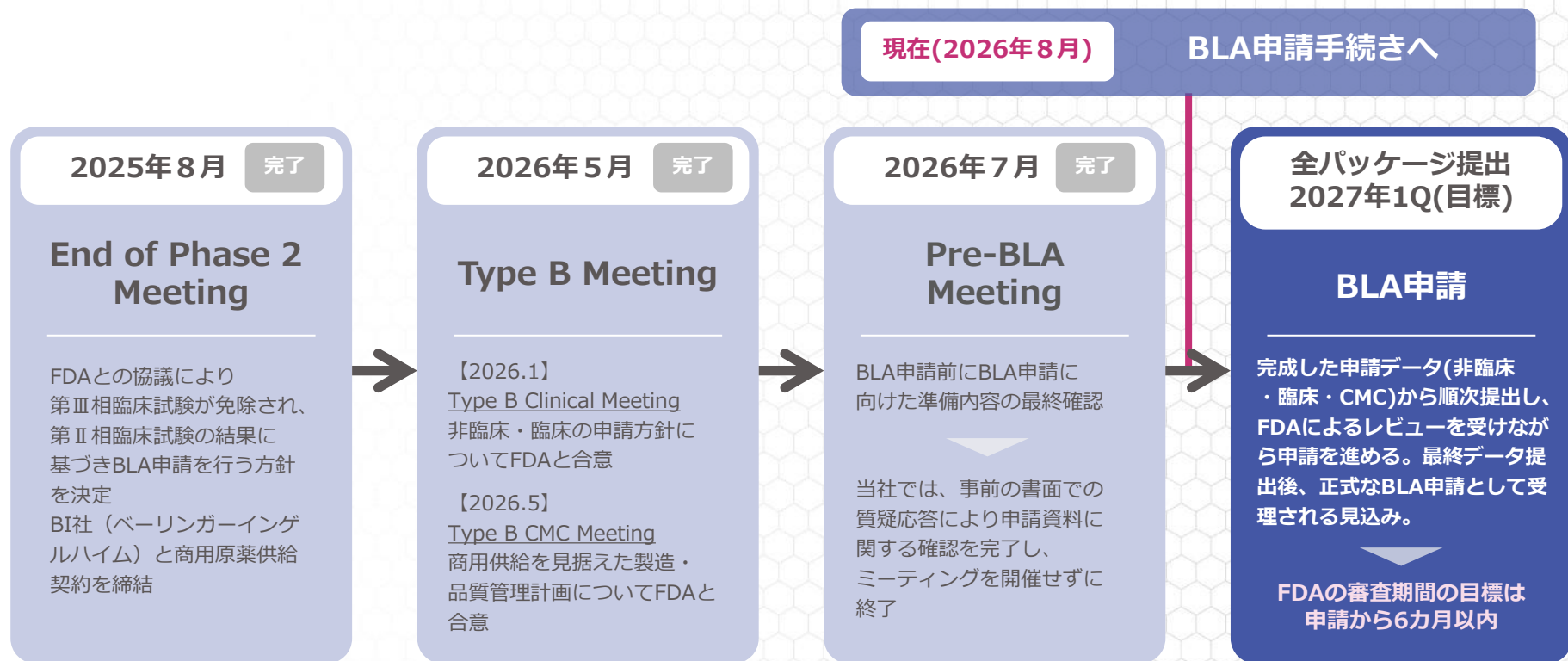
画期的新薬(ブレイクスルー・セラピー)に指定されたため、FDAからの集中的なガイダンスと、審査プロセスの効率化(ローリングサブミッション等の利用資格)が得られます

### Rolling Submission

全ての領域が完成してから申請するのではなく、準備ができた領域から順次提出することで、審査の開始を早める

# 米国でのBLA申請の現状

米国FDAとの個別協議(臨床・CMC)及びPre-BLA Meetingを完了  
Rolling Submissionを開始しPriority Reviewを活用したBLA審査プロセスを進める



# HGFの日本と米国における臨床試験の範囲

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

慢性動脈閉塞症／末梢動脈疾患

その他血流障害(虚血)など

ASO（閉塞性動脈硬化症）

CLTI（包括的高度慢性下肢虚血）



【軽度から中等度】 86万人※



【重度】（重症下肢虚血） 2万人※

日本国内の臨床試験  
における対象患者

閉塞性動脈硬化症の潰瘍のある  
重度下肢虚血の患者を対象としていた

米国の臨床試験  
における対象患者

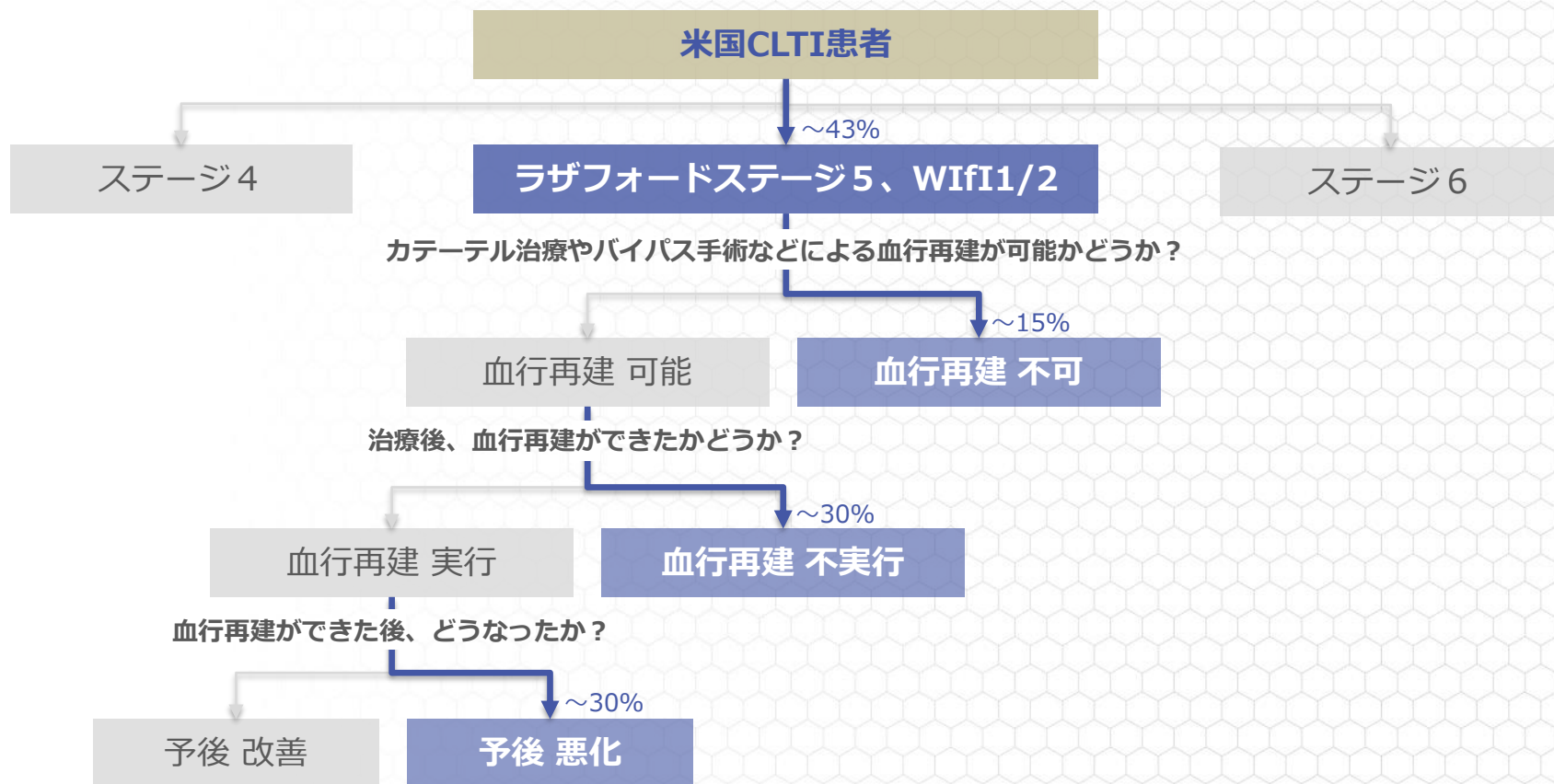
臨床試験の指導医のアドバイスにより  
CLTIの軽度から中等度の患者を対象に  
臨床試験を実施

※当社調査による



# HGF遺伝子治療用製品の対象患者数

血行再建不可や未実施、血行再建後の予後悪化といった  
症状の患者への投与を想定



## 2026年12月期 上期トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの状況

3

Tie2受容体アゴニスト(AV-001)の状況

# NF-κBデコイオリゴDNA

北米脊椎学会（NASS）が発行するThe SPINE JOURNALに  
米国で椎間板性腰痛症の患者を対象に実施した  
後期第1相臨床試験の結果についての論文が掲載

10mg投与群では

- ・ 臨床試験に参加した患者の**77.4%**で痛みが軽減し  
半数で痛みがほぼ完全に消失
- ・ 椎間板の高さが、投与前から改善していることから  
傷んだ椎間板の回復を示唆

現在実施中の国内第2相臨床試験は  
**2026年中の登録完了を目指す**

## 2026年12月期 上期トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの状況

3

Tie2受容体アゴニスト(AV-001)の状況



## 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  
前期第 2 相臨床試験を米国で実施中

計画した症例数の登録を完了し脱落分の追加登録を実施中



2026年3Qの登録完了を目指す

FDAよりFast Trackに指定

- ・ 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
- ・ 申請書類を段階的に提出し審査を受けることが可能

## AV-001の今後の展開

新たに医師主導試験を開始  
血液透析に伴う脳浮腫の軽減を通じて、認知機能低下の抑制  
及び脳白質機能の維持効果を評価する

末期腎不全患者の最大 90%が血液透析を利用

混乱、せん妄、長期的な認知機能低下といった症状を引き起こす  
特に55歳以上の患者では70%が中等度から重度の認知障害を引き起こす

カナダ心臓・脳卒中財団より助成を受け  
透析中に大きな循環ストレスを受ける脳血管の安定化を目指す  
2026年3月より患者への投与を開始

AV-001の対象疾患をすべての疾患に拡大する契約を締結

# 03

## その他のトピックス

## その他のトピックス

4

ACRL 検査事業の状況

5

EmendoBio社のゲノム編集技術をライセンス

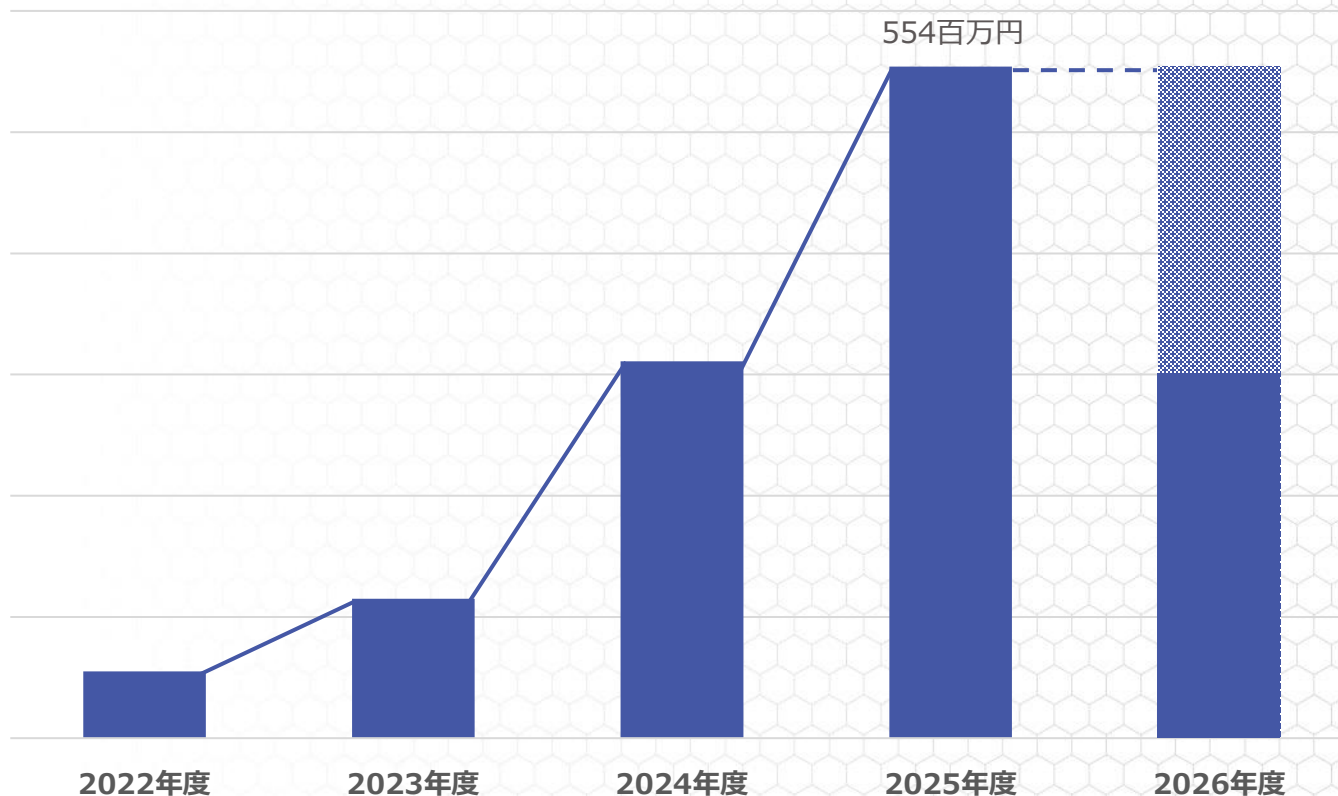
6

資金調達



# 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の検査による手数料収入は順調に推移



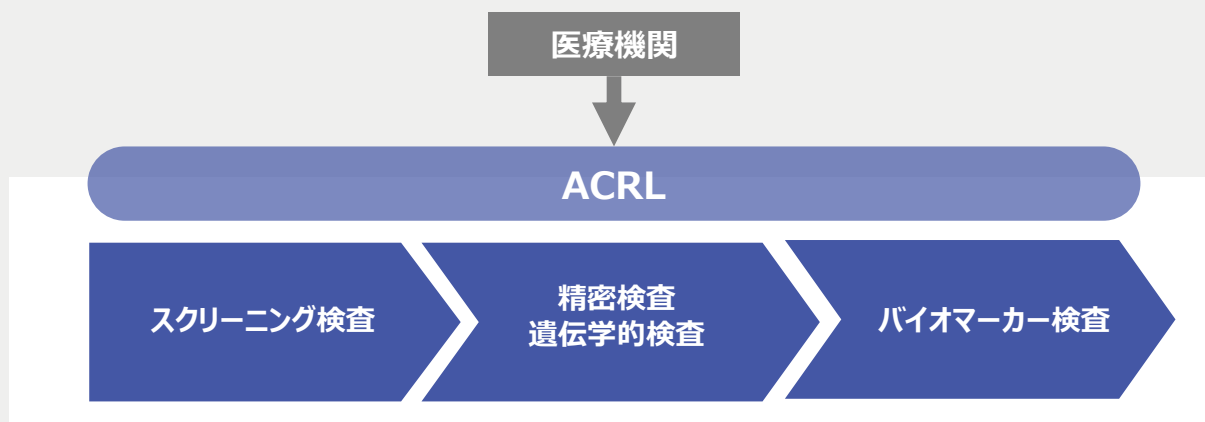
引き続き、**受託先の拡大**と**検査対象疾患の拡大**に取り組む  
検査サービス拡充や他社との協業を含む戦略的選択肢を検討する

# 希少遺伝性疾患検査をワンストップで

ライソゾーム病ではスクリーニングで偽陽性※が多く発生  
家族や医療関係者の負担が大きい

偽陽性を選別するためバイオマーカー検査を  
二次スクリーニングとして活用する検査方法を開発し受託を開始

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を構築



※偽陽性とは…病気ではないのに、スクリーニング検査結果が陽性と判定されること

## その他のトピックス

4

ACRL 検査事業の状況

5

EmendoBio社のゲノム編集技術をライセンス

6

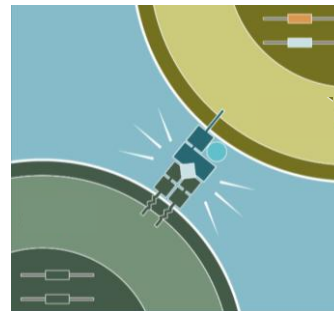
資金調達

## EmendoBio社ライセンス契約内容

2024年にスウェーデンのAnocca社と契約した  
OMNIヌクレアーゼの非独占的**使用権の適応範囲を広げる契約を締結**

### がん細胞特異的な抗原を認識する人工T細胞（TCR-T細胞）を作製

Anocca社は様々ながんの特異的TCR受容体ライブラリを保有しており  
EmendoBio社のOMNIヌクレアーゼを使って患者のT細胞に対象となるがんのTCR受容体遺伝子を組み込み、TCR-T細胞を作製する





# スタンフォード大学との共同研究

EmendoBio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

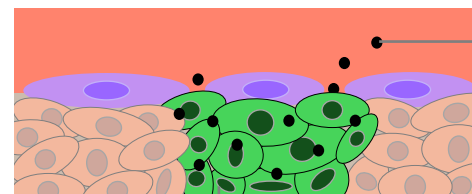


emendo<sup>bio</sup>

+

## Stanford University

がん組織特異的に薬剤を  
送り込む技術



がん細胞

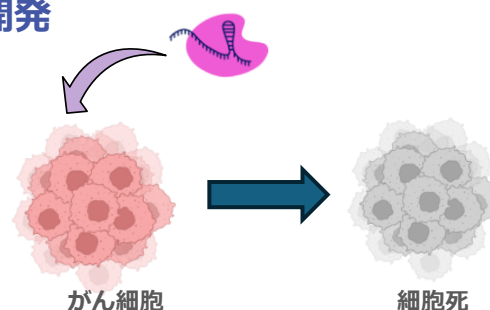


Stanford  
University

## 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。EmendoBio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



がん細胞

細胞死

## その他のトピックス

4

ACRL 検査事業の状況

5

EmendoBio社のゲノム編集技術をライセンス

6

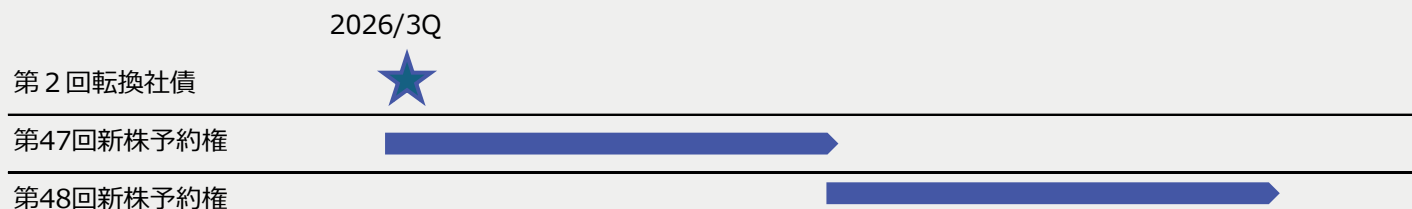
資金調達

# 今回の資金調達について

## 全体の構成

- ・ 第2回無担保転換社債  
20億円を調達
- ・ 第47回新株予約権（行使価格修正条項付）  
第46回新株予約権の残数を取得消却し、新株予約権を新規発行  
当初行使価格50円 総額約40億円
- ・ 第48回新株予約権  
さらに新株予約権を発行  
行使価格43.5円 総額約25億円

## 資金調達のイメージ



# 今回の資金調達について

## 新株予約権の概要

- ・ 第47回新株予約権  
当初行使価格50円  
行使価格は直前日終値の90%に見直し 下限行使価格25円
- ・ 第48回新株予約権  
行使価格43.5円

## 転換社債の概要

社債の金額 25億円  
株式への転換は第47回新株予約権の行使完了又は取得消却後  
株式への転換条件 転換価格43.5円



# 今回の資金調達について

## 転換社債の引受先

GP上場企業出資投資事業有限責任組合

## 新株予約権の引受先

GP上場企業出資投資事業有限責任組合

## 今回の資金調達を選択した理由

- ・ 転換社債により当面必要な資金を確保するとともに、新株予約権の行使を通じて中長期的な資金調達機会を確保
- ・ グロースパートナーズ社（GP社）と事業提携契約を締結  
→GP社は資金提供のみならず、事業提携契約に基づく経営支援や事業開発支援を提供する予定であり、同社との連携を通じて企業価値向上を目指す

# 04

補足資料

## HGF遺伝子治療用製品

# HGF遺伝子治療用製品とは？

## 遺伝子治療とは

特定の遺伝子を患者の体内に入れて  
その遺伝子から作られるタンパク質の働きによって病気を治す治療法

## HGFとは

### 肝細胞の増殖を促す物質

1984年、日本にて、最も再生能力の高い臓器である肝臓から一つの成長因子が発見されました。  
その因子は、肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor : HGF）と名付けられ、肝臓のみならず、血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において主要な役割を果たしていることがわかりました。

## HGFには、血管を新生する能力があることを発見

1995年、大阪大学の森下竜一教授らの研究チームにより  
HGFに「血管を新生する」能力があることが発見され、血管が詰まり血流が悪くなっている虚血性疾患に対し「血管を新生する」というこれまでにない  
作用を有する治療薬「HGF遺伝子治療薬」の開発が始まりました

※「血管を新生する」とは、血管を新しく増やすこと。新生(新しく作る)していくことで、血管が再生されていく。



# 重症下肢虚血の5年後の死亡率

## 重症下肢虚血とは

米国の南カリフォルニア大学のアームストロング博士によると  
米国での重症下肢虚血の患者の5年後の死亡率は57%であり、  
肺がんの死亡率80%に次いで高い重症な疾患

重症下肢虚血についてもがん治療と同様に  
早期に治療を開始することが重要

下肢切断リスクの低い慢性動脈閉塞症の患者を対象として  
後期第Ⅱ相臨床試験を実施

米国心臓学会発行の「Circulation: Cardiovascular  
Interventions」誌に主導医師の論文が掲載

# 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

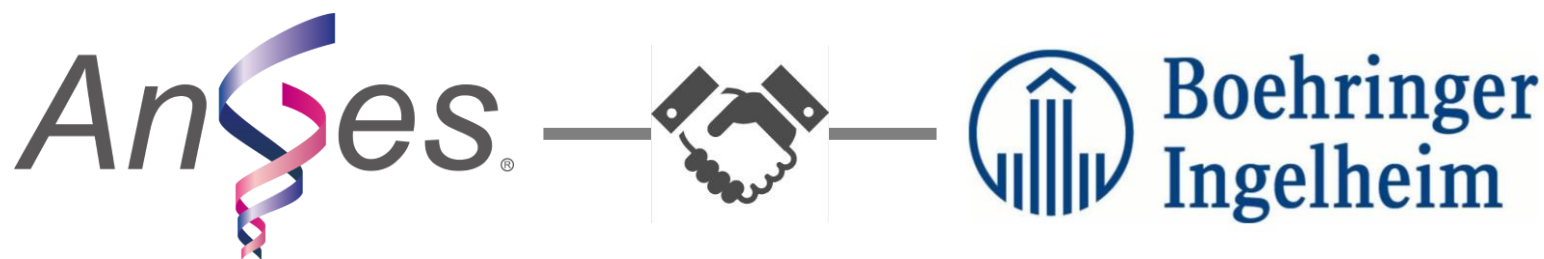
臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請(BLA)  
の承認を目指し準備を進める

2025年12月

Type B Clinical Meeting 実施

# 上市後の原薬製造・供給体制の確立

世界有数の医薬品及びバイオ医薬品製造企業である  
ベーリンガー・インゲルハイム・バイオフーマシューティカルズ社と  
製造に関する協業開始



**契約締結日** 2025年8月20日

**パートナー** ベーリンガーインゲルハイム BioXcellence™  
(世界有数のバイオ医薬品CDMO)

**内容** HGF遺伝子治療用製品の原薬に関する受託開発・製造契約

**意義** 世界45品目以上の商用製品供給実績を持つトッププレイヤーとの協業  
FDA承認取得に向けたCMC情報の信頼性を担保

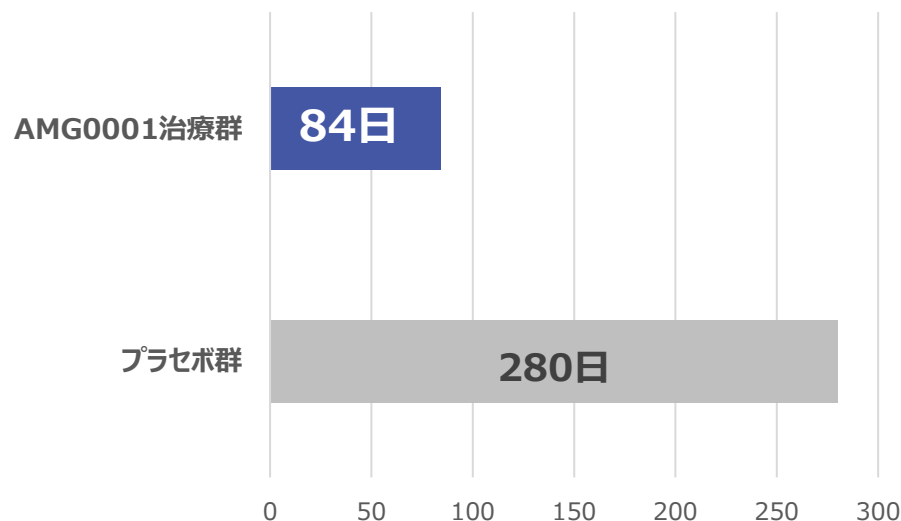
# 米国での臨床試験結果を論文発表

米国での第Ⅱ相臨床試験の良好な結果について

米国心臓学会(AHA)の「Circulation: Cardiovascular Interventions」にて論文掲載

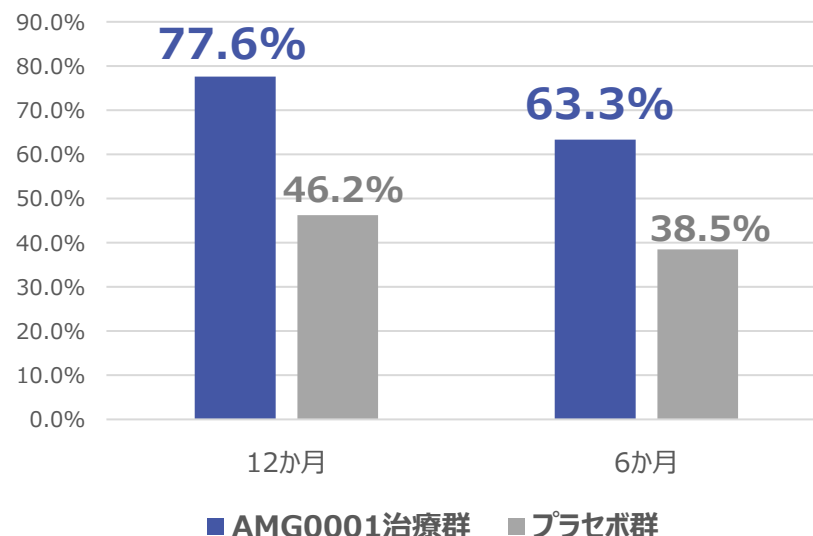
## 治癒までの期間（中央値）

中等度のCLTI患者の  
潰瘍完治までの期間を有意に短縮



## 治癒した潰瘍の割合

中等度のCLTI患者への  
高い有効性を実証



### ※Circulation: Cardiovascular Interventionsとは

米国心臓学会（AHA）が発行する、心臓や血管の病気に対して、カテーテルなどを用いて行う低侵襲な治療法を研究・実践する医療分野である心血管インターベンション分野に特化した査読付きの学術雑誌です。冠動脈疾患、構造的な心疾患、血管疾患に関するインターベンション技術に焦点を当て、原著研究、ランダム化試験、大規模レジストリ研究を重視しています。



## NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA

# NF-κBデコイオリゴDNAの仕組み

## ■ 核酸医薬品としての特徴

NF-κBデコイオリゴDNAは、人工的に作られた短いDNAです。従来の低分子医薬や抗体医薬とは異なり、病気の原因となる遺伝子の働きを直接コントロールできる次世代の核酸医薬品です。

## ■ 作用メカニズム：遺伝子の「おとり」

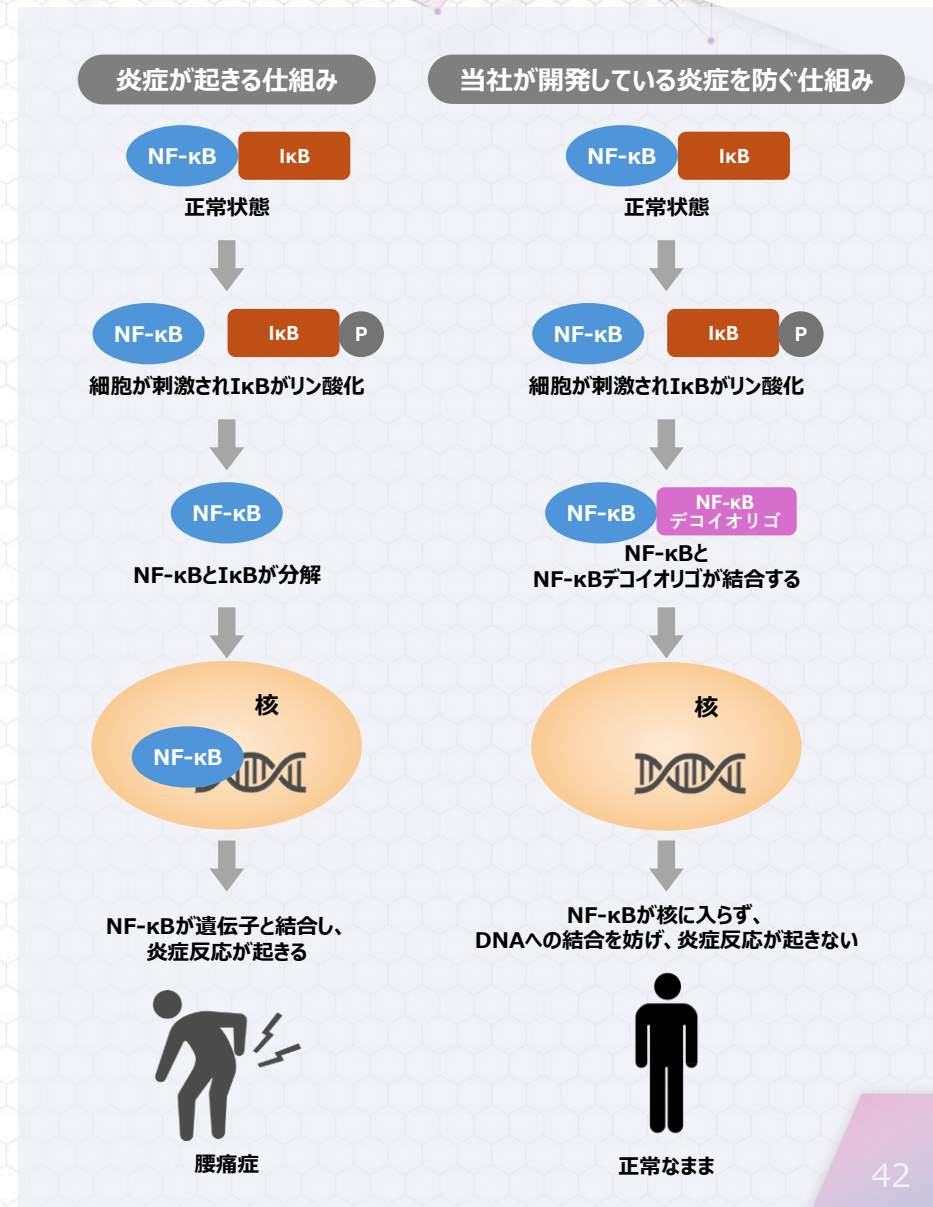
通常、体の中では「DNA→RNA→タンパク質」の流れで情報が伝わります。本製品はその名のとおり、遺伝子のスイッチをだます「おとり（デコイ）」として機能します。

- ・ 異常な遺伝子の働きを停止
- ・ 病因タンパク質の合成を阻害

## ■ 慢性椎間板性腰痛症への適応

椎間板の損傷や変性により、核内へ移行したNF-κBが特定のDNA配列に結合することで、炎症性サイトカイン（IL-6、TNF-α等）が過剰に発現します。

本製品を投与することで、NF-κBが本物のDNAへ結合するのを防ぎ、免疫・炎症反応を根本から抑制します。



## Tie 2 受容体アゴニスト (AV-001)

# Tie 2 受容体アゴニスト (AV-001) とは

カナダのバイオ医薬品企業である**Vasomune社**と**共同開発**を進めている、  
**Tie2受容体アゴニスト**

急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象に  
2020年より米国において第 I 相臨床試験を実施し、安全性と忍容性を確認

## Vasomune社とは

Vasomune Therapeutics, Inc.は、  
血管漏出に対する体内の防御機能を高める  
次世代医薬品の開発を行う、  
**2014年設立のカナダのバイオ医薬品企業**

Vasomune社は、血管の正常化戦略に注力し、  
主力候補であるAV-001を基礎研究から臨床応用へと  
進めてきました。

血管機能障害及び血管漏出は、細菌性及び  
ウイルス性肺炎、ARDS、敗血症、出血性ショック、  
急性腎障害、脳卒中、血管性認知症など、  
さまざまな疾患に関与しています。

## Tie2受容体とは

### ■ Tie2受容体

血管の内側（内皮細胞）に存在するタンパク質の受容体。  
主に血管を安定させ、漏れにくくする司令塔のような働  
きをします。具体的には：

- ・血管のバリア機能を維持
- ・内皮細胞同士の結合を強化
- ・炎症や血管漏出を抑制
- ・血管を「壊れやすい状態」から「健康な状態」へ保つ

### ■ アゴニスト

受容体に結合して、その受容体を  
「働かせる（活性化する）」物質のこと



# ARDSとは

## ■ ARDS（急性呼吸窮迫症候群）とは

肺が急激に強い炎症を起こし、うまく酸素を取り込めなくなる重症疾患です。致死率は約30～40%と高く、集中治療室での管理を要します。

## ■ 病態：「肺が水浸しになる状態」

肺の急激な炎症によって肺胞と血管の壁が壊れ、血液成分などが漏れ出しやすくなります。その結果、肺胞内に浸出液がたまる「肺水腫」が起こり、酸素が血液へ届かなくなることで激しい息苦しさを生じさせます。

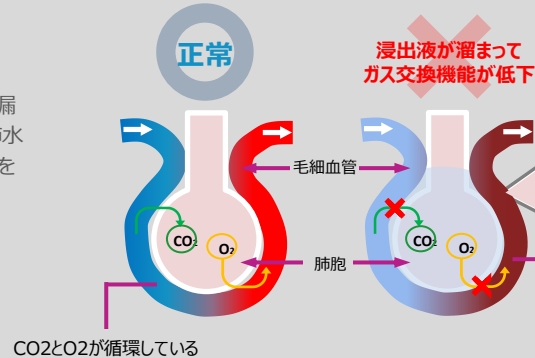
## ■ 現在の標準治療（対症療法）

有効な特異的治療薬は存在せず、以下の管理が中心となります。

- ・呼吸・体位管理：人工呼吸器の使用、うつ伏せにする等
- ・薬物療法：ステロイドによる炎症の抑制
- ・水分調節：体内の水分量の調整（補液管理）

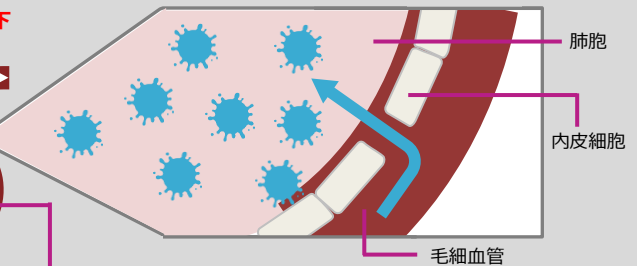
### 肺胞の拡大図

#### 肺胞におけるガス交換の比較図



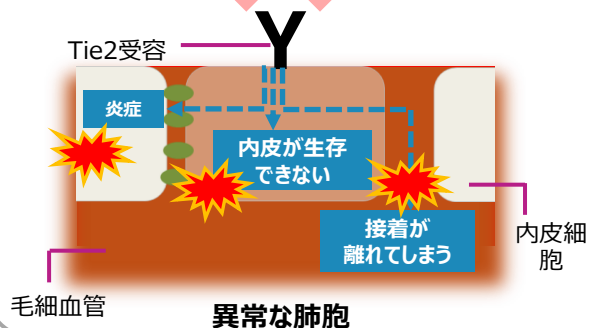
### 肺胞のさらなる拡大図

内皮細胞が離れてしまうことにより、肺胞に浸出液が入り込んでしまう。

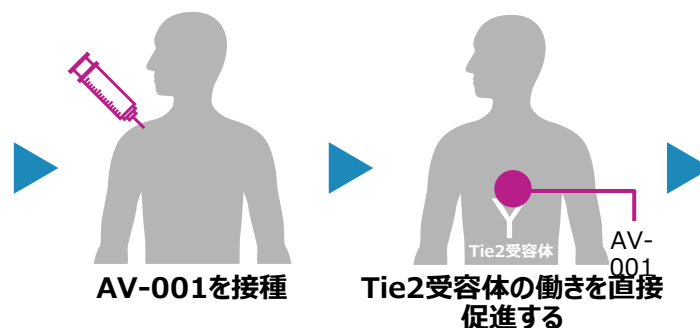


## AV-001のメカニズム（血管の生理機能の維持・回復）

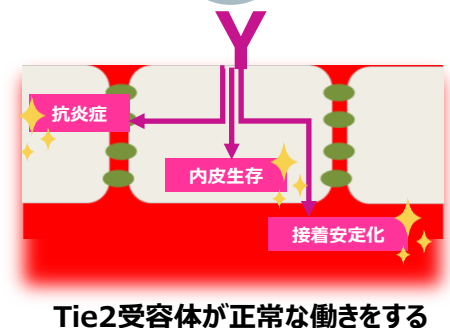
Tie2受容体の働きが抑制されることにより、内皮細胞が離れてしまい、肺胞に浸出液が入ってしまう



AV-001を投与することにより、Tie2受容体の働きを正常な状態に戻す



AV-001により、Tie2受容体の働きが正常になる



# ゾキンヴィ

# ゾキンヴィについて

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プロジェロイド・ラミノパチー(PDPL)の治療薬

## 対象疾患

### 乳児早老症といわれる、「HGPS」と「PDPL」

早老症とは、老化の徴候が実際の年齢よりも早く、全身にわたってみられる疾患の総称  
実年齢よりも老化が進む症状が見られるため“早老症”と呼ばれる  
HGPSの平均年齢は、14.5歳と報告されています

## 有効性

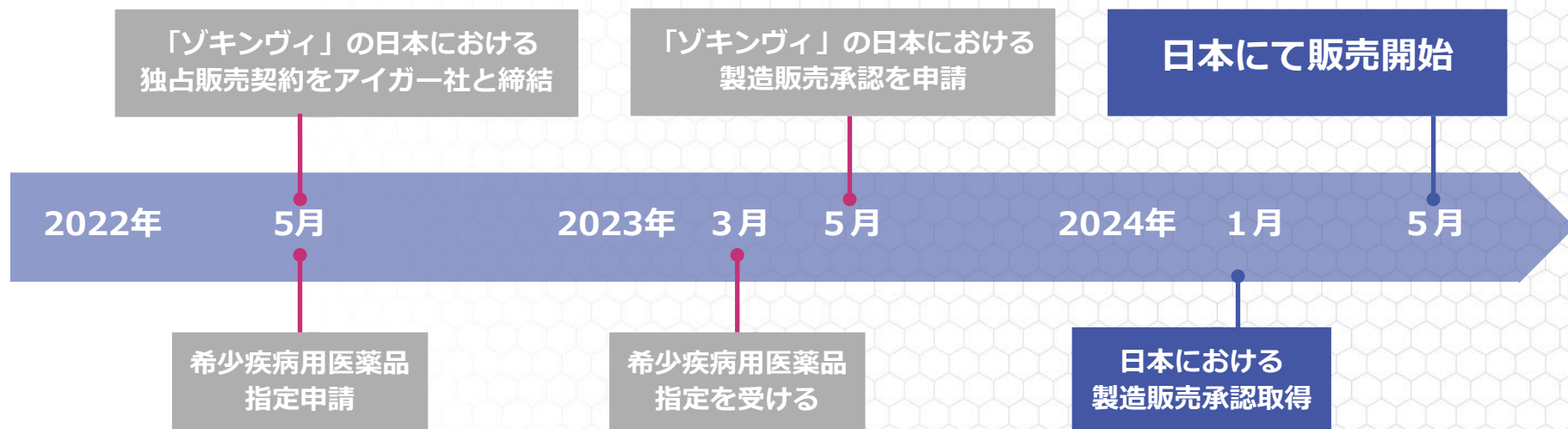
ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）の  
患者において、**死亡率を72%減少**させ、  
**平均生存期間を4年程度延長**させるというデータがあります

## 安全性

多くのHGPS患者が10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、  
報告された副作用は嘔吐、下痢、悪心などが多く、そのほとんどが軽度又は中等度

# 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/50mg (1カプセル)  
右 136,544.00円/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  
プロセッ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 $115 \text{ mg/m}^2$   
(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カ月後に維持用量 $150 \text{ mg/m}^2$ (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。



## アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

# アンジェスクリニカルリサーチラボラトリーとは (ACRL)

希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所

## アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

拡大新生児スクリーニング検査業務を受託



©三輪晃久写真研究所

2025年度  
9万件/年

2024年度  
5万件/年



今後、受託先を拡大  
検査対象疾患の拡大に取り組む

### 新生児を対象とした検査

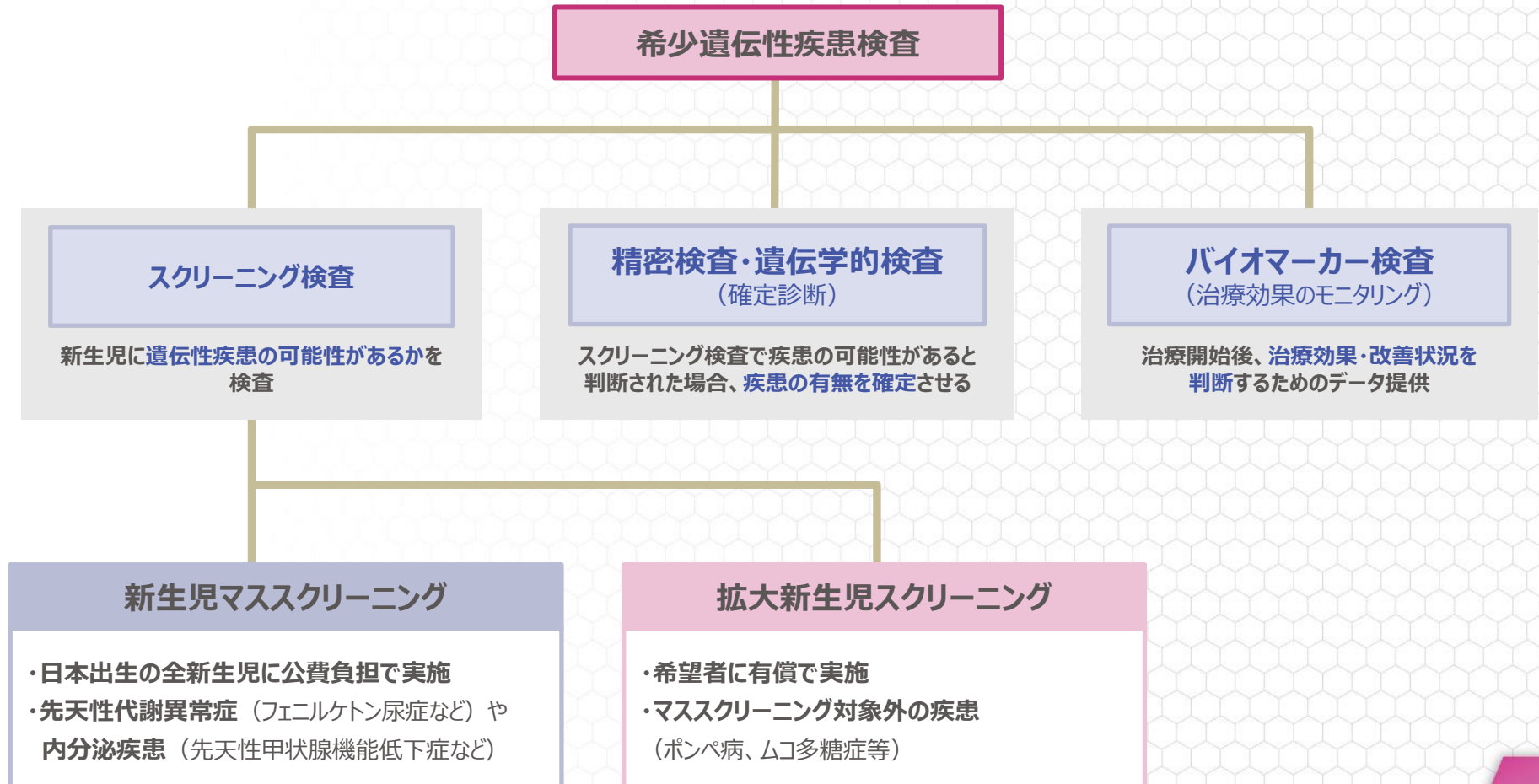
#### 新生児マス・スクリーニング（公的マス）

- ・日本出生の全新生児に無償で実施
- ・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（SMA、SCID、ポンペ病、ムコ多糖症等）

希少遺伝性疾患検査には、  
「スクリーニング検査」・「遺伝学的検査」・「バイオマーカー検査」があります。



**EmendoBio社**

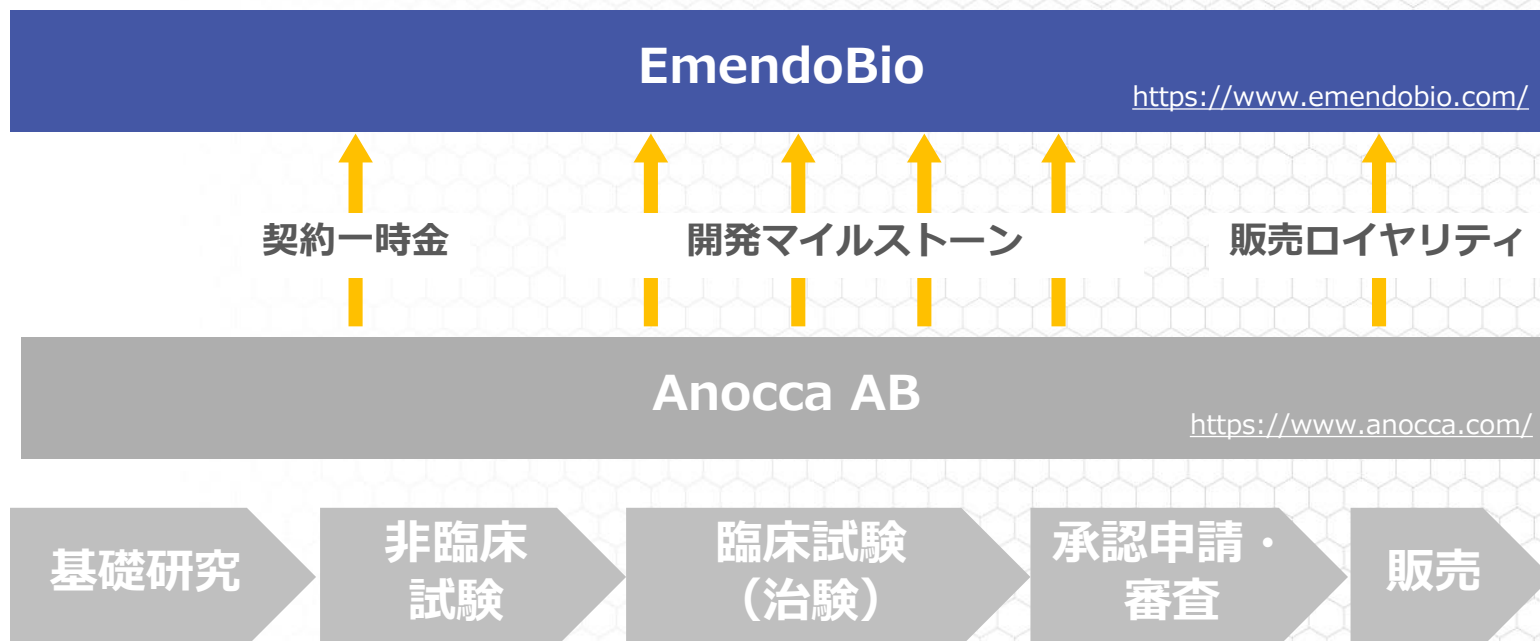


# EmendoBio社ライセンス契約内容

2024年3月14日

## EmendoBio社がスウェーデンのAnocca社とライセンス契約

(EmendoBio社が開発したゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権の供与)



# TCR-T細胞による治療

Anocca社は、EmendoBio社が開発したOMNIヌクレアーゼを使用し  
固形がんのKRASタンパク質変異を標的としたTCR-T細胞療法の開発を進める

## 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

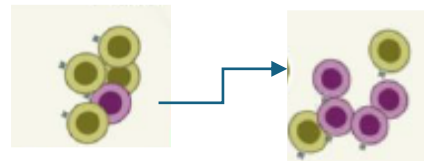


emendo<sup>bio</sup>

+

## Anocca AB

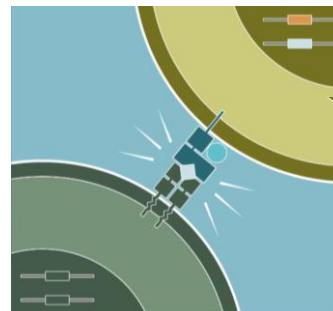
特定の抗原を認識するTCRを  
発現するT細胞を選別、  
培養する技術



anocca

## がん細胞特異的な抗原を認識する 人工T細胞（TCR-T細胞）の作製

Anocca社は様々ながんの特異的TCR受容体ライブラリを保有しており  
EmendoBio社のOMNIヌクレアーゼを使って患者のT細胞に  
対象となるがんのTCR受容体遺伝子を組み込み、TCR-T細胞を作製する



# 免疫療法について

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



患者さん自身の免疫細胞が元となっているため  
**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  
かたまりを作らずに増える  
(白血病、悪性リンパ腫、骨髄腫など)



**CAR-T細胞治療法**

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。

## 固形がん

がん細胞が集まってできたもの  
かたまりで増える  
(膵がん、肺がん、大腸がん、食道がんなど)



Anocca AB

**TCR-T細胞治療法**

EmendoBio

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。

遺伝子の力を活用し  
すべての人に治療の機会を届けます



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