



AnGes

事業計画及び 成長可能性に関する事項の開示



2026年3月

本資料の取り扱いについて(免責事項)

- 本資料は、経営指標や将来の事業計画等をご説明するための資料です。
- 本資料に掲載されている将来の見通し、その他今後の予測・戦略などに関する情報は、本資料の作成時点において、当社が合理的に入手可能な情報に基づき、通常予測し得る範囲で判断したものであり、多分に不確定な要素を含んでおります。
- 実際の業績等は様々な要因の変化等により、本資料記載の見通しとは異なる結果を生じる可能性があります。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表後（2027年3月）を目途に開示を行う予定です。また、開発計画に重要な進捗・変更が生じた場合は、適宜開示いたします。

会社概要

会社概要

■ 会社概要

商号	アンジェス株式会社
本社所在地	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
代表者	山田 英（代表取締役 社長）
設立年月日	1999年12月17日
資本金	40,228百万円（2025年12月末日現在）
従業員数	56名（2025年12月末日現在：連結）
主な事業	遺伝子医薬品の研究開発 希少遺伝性疾患等の検査受託

■ 事業所

本社	大阪府茨木市彩都あさぎ7-7-15 彩都バイオインキュベータ
東京支社	東京都港区芝4-13-3 PMO田町Ⅱ 9階
殿町研究開発センター (CMC開発部・創薬研究部)	神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-14 ナノ医療イノベーションセンター内
アンジェスクリニカル リサーチラボラトリー(ACRL)	神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-13 川崎生命科学・環境研究センター内

■ グループ会社

AnGes USA, Inc.	111 Town Square Place, Suite 1140, Jersey City, New Jersey, 07310 USA
EmendoBio Inc.	111 Town Square Place, Suite 1140, Jersey City, New Jersey, 07310 USA

1999年12月	遺伝子治療用製品、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として、大阪府和泉市に株式会社メドジーンを設立
2001年1月	東京都港区に東京支社を開設
2001年10月	米国での臨床開発を目的として、米国メリーランド州にアンジェス インク（連結子会社）を設立
2002年9月	東京証券取引所マザーズに上場
2008年4月	ムコ多糖症VI型治療薬（Naglazyme®）の国内での販売開始（2019年まで）
2017年7月	商号をアンジェス株式会社に変更
2019年3月	HGF遺伝子治療用製品 条件及び期限付製造販売承認を取得
2020年3月	大阪大学と共同で新型コロナウイルスDNAワクチンの共同開発を発表
2020年12月	<ul style="list-style-type: none"> ・ Vasomune社と共同開発のAV-001を新型コロナウイルス治療薬として臨床試験の開始 ・ ゲノム編集技術を保有するEmendoBio Inc.を子会社化
2021年4月	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ラボラトリー（ACRL）開設
2022年5月	Eiger BioPharmaceuticals Inc.との希少疾患治療薬ゾキンヴィ（ロナファルニブ）に関する日本における販売契約締結
2022年9月	新型コロナウイルスDNAワクチンの開発中止、改良型新型コロナウイルスDNAワクチンの経鼻投与剤を米国スタンフォード大と共同開発開始
2023年3月	NF-κBデコイオリゴDNAの国内における慢性椎間板性腰痛症を対象とした第Ⅱ相臨床試験への協力に関する契約を塩野義製薬株式会社と締結
2023年5月	<ul style="list-style-type: none"> ・ 希少疾患治療薬ゾキンヴィ（ロナファルニブ）の製造販売承認を申請 ・ HGF遺伝子治療用製品の条件解除に向けた製造販売の本承認を申請
2024年1月	希少疾患治療薬ゾキンヴィ（ロナファルニブ）の製造販売承認を取得
2024年5月	希少疾患治療薬ゾキンヴィ（ロナファルニブ）の販売開始
2024年6月	HGF遺伝子治療用製品の条件解除に向けた製造販売の本承認申請を取下げ、販売終了
2024年9月	HGF遺伝子治療用製品が米国FDAよりブレイクスルーセラピーの指定
2025年8月	<ul style="list-style-type: none"> ・ HGF遺伝子治療用製品の原薬供給契約をベーリンガー・インゲルハイム社と締結 ・ 同製品の米国でのBLA申請の準備を開始

Mission

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

Vision

遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、未だ有効な治療法が存在しない疾患に革新をもたらし、世界中の人々のQOL（生活の質）向上に貢献します

Value

- | | |
|---------------|-------------------------------------------|
| Aspiration（志） | : 挑戦する精神と熱意を持ち続け変化を恐れずに変革者となります |
| Network | : 多様性を尊重しすべてのステークホルダーとのネットワークを大切にします |
| Genesis（創生） | : 常に最先端の研究成果と考え方を取り入れ新しい技術と製品価値観の創生を目指します |
| Ethics（倫理） | : 最高の倫理観をもって業務に臨みます |
| Speed | : 革新的な遺伝子医薬品をできるだけ早く実現し必要とする患者さんに届けます |

ビジネスモデル

事業の内容

医薬品開発

有効な治療法のない疾病（難病・希少疾患等を含む）を、遺伝子の力を用いて治療する遺伝子医薬（遺伝子治療や核酸医薬など）等の研究開発

HGF
遺伝子
治療用製品

NF- κ B
デコイ
オリゴ
DNA

Tie2
受容体
アゴニスト

DNA
ワクチン

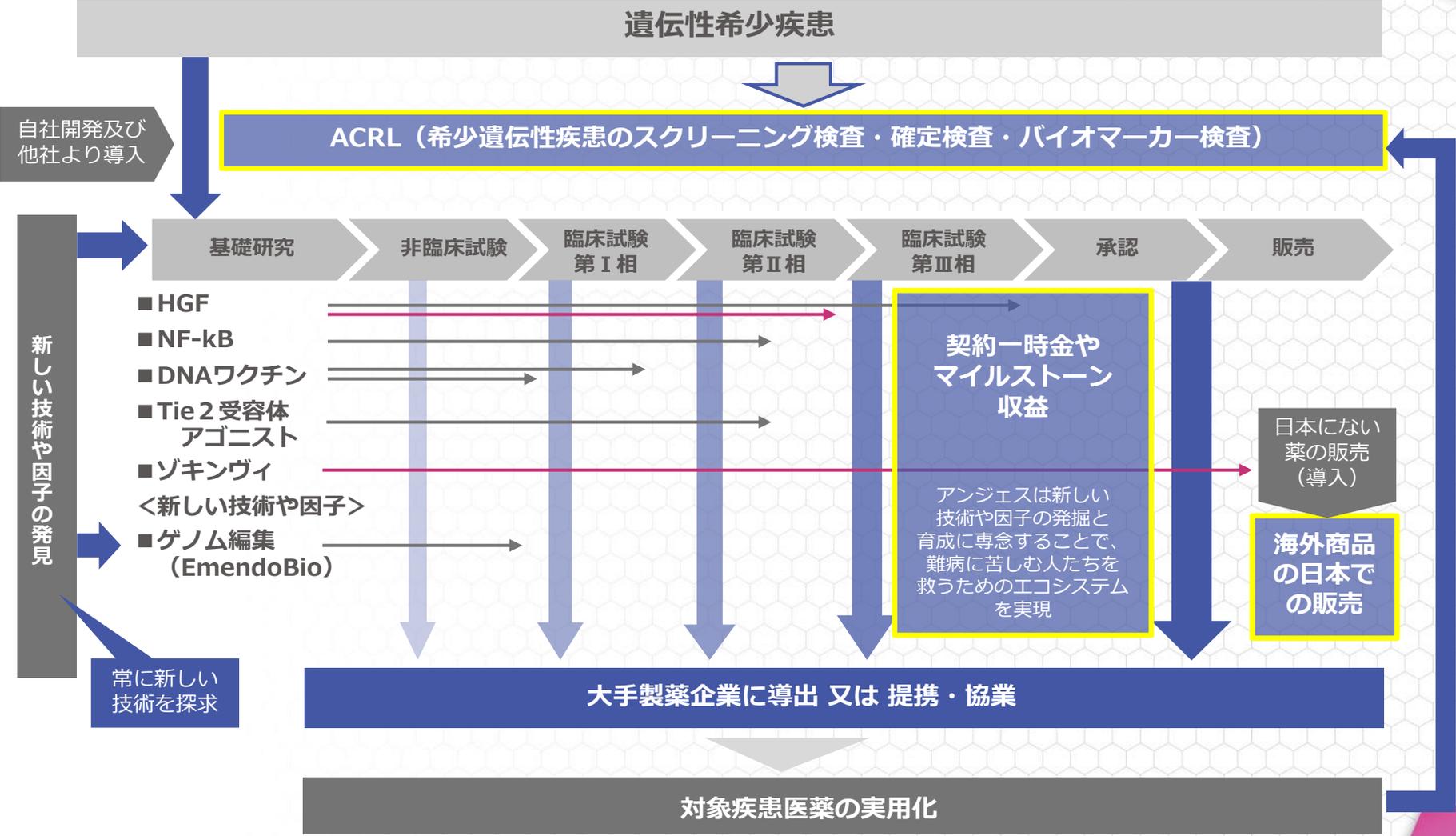
ゲノム編集

オフターゲット効果を低減した独自のOMNIヌクレアーゼと、AIを活用したヌクレアーゼ作出プラットフォームOMNI Platformの研究開発

希少遺伝性 疾患検査

希少遺伝性疾患の早期発見、早期治療を目的としたスクリーニング検査と、希少遺伝性疾患確定のための遺伝学的検査、治療効果をモニタリングするバイオマーカー検査の受託

事業の収益構造



が当社の収益となります

プロジェクトの状況

プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			申請・審査	承認
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミノゲンペルプラスミド)	日本	-	注射剤	慢性動脈閉塞症	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅲ相]						米国の進捗を見ながら検討
	米国	-	注射剤	包括的高度慢性下肢虚血 (CLTI)	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅱ相]						BLAに向けた準備中
	イスラエル トルコ	Kamada Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅲ相]						
NF-kBデコイオリゴDNA	日本	-	注射剤	慢性椎間板性腰痛症	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅱ相]						
DNAワクチン	豪州	-	注射剤	高血圧	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅱ相]						
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)	[Progress bar from 基礎研究 to 第Ⅱ相]						

※ Zokinvyは開発が完了し販売を開始しています
DNAワクチンの経鼻投与製剤のスタンフォード大との共同研究開発は終了いたしました

提携状況

<自社開発品の導出（販売権供与）>

プロジェクト名	適応症	地域	提携先
HGF遺伝子治療用製品	慢性動脈閉塞症	日本	提携先交渉中
		米国	
		イスラエル	カマダ（イスラエル）
		トルコ	アーキム（トルコ）

<導入品>

プロジェクト名	適応症	当社の権利	提携先
CIN治療ワクチン	子宮頸部病変	日米英中の開発販売権	バイオリーダーズ（韓国、導入元） 森下仁丹（日本、再許諾先）
ゾキンヴィ（ロナファルニブ）	HGPS・PDPL	日本における販売権	センチニル（アメリカ・仕入先）

<導出>

プロジェクト名	内容	企業名
EmendoBio社のゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼを使って、固形がんに対するTCR-T細胞療法の開発	ライセンス契約 （非独占的使用権）	アノカ（スウェーデン）

<提携>

プロジェクト名	提携内容	提携先
マイクロバイオームー常在菌の培養、製剤化	資本提携	マイバイオティクス（イスラエル）
Tie2受容体アゴニスト（ARDSほか）	共同開発	バソミューン（カナダ）
ゲノム編集による新規がん治療法の開発	共同開発	ブライヤム大学（アメリカ）
NF-κB decoy オリゴDNA（腰痛症）	開発協力	塩野義製薬（日本）

※ ミラックスセラピューティクスのマイクロRNA阻害剤の研究に関する契約は終了いたしました
ブリッケル社は会社が精算されました
EmendoBio社によるゲノム編集のプラットフォーム技術については、子会社での研究であるため記載を削除しました

市場環境

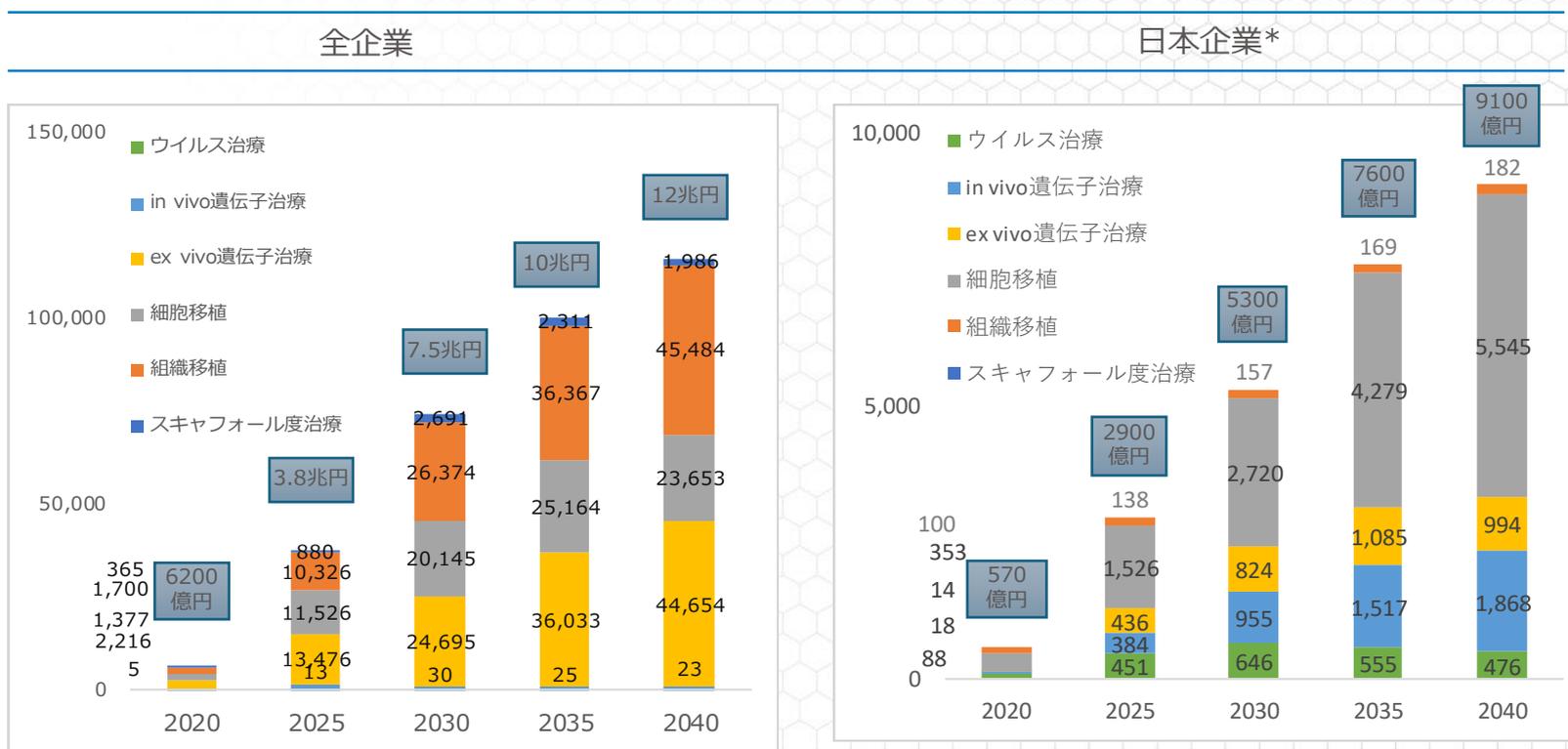
我が国の市場獲得可能性

国産再生医療・遺伝子治療の売上推計（作用機序別）

グローバルでの傾向と異なり、日本企業に関してはin vivo/ex vivo遺伝子治療の市場拡大は限定的で、売上の半分以上が細胞移植に偏ると推計。

グローバル市場規模推計

（作用機序別、億円）



出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成
*日本企業が開発しているパイプラインの試算結果

疾患別の市場拡大に向けたポイント

主要な疾患における2030年、2040年に予測される市場動向は以下の通り。

	2030年の市場規模		2040年の市場規模	
	市場規模 (世界/日本)	市場動向	市場規模 (世界/日本)	市場動向
がん	2.9兆円/ 5,100億円	自家細胞を中心にCAR-T等のEx-vivo遺伝子治療が中心。血液がんから固形がんへの適用が進み、市場が急拡大する	3.1兆円/ 6,400億円	細胞の改良が進み、より安価で治療効果の高いEx- vivo遺伝子治療が市場を獲得する
単一遺伝子疾患	2.1兆円/ 1,400億円	In-vivo遺伝子治療の開発が進んでいる疾患で実用化し、大きな市場を形成	2.5兆円/ 890億円	In-vivo遺伝子治療がほとんどの単一遺伝子疾患に浸透し、根治する時代が到来する
中枢神経	3,700億円/ 400億円	希少疾患のIn-vivo遺伝子治療に加え、脳梗塞・脊椎損傷等を対象とした細胞移植が市場を形成	1.7兆円/ 1,220億円	パーキンソン病やアルツハイマー病などの難病において生着の細胞移植が市場を牽引
眼	6,900億円/ 1030億円	・加齢黄斑変性や網膜色素変性を中心に、In-vivo遺伝子治療が中心となり市場を形成 ・細胞移植も一部市場を形成	1.3兆円/ 1,030億	・In-vivo遺伝子治療で様々な眼に関する疾患が根治する時代が到来する ・細胞移植も一部市場を形成
筋骨格	4,700億円/ 400億円	・In-vivo遺伝子治療を活用した筋ジストロフィーが市場の中心 ・関節症など、老化に伴う疾患の市場は限定的	1.1兆円/ 580億円	筋ジス、筋ミオパチー、関節リウマチで、in vivo 遺伝子治療が中心に市場を拡大。関節リウマチや 関節症などは一部、細胞移植も市場を形成
内分泌・代謝	1.1兆円/ 450億円	In-vivo遺伝子治療を活用した先天性代謝障害等の単一遺伝子疾患を中心に市場を形成	1.3兆円/ 410億円	単一遺伝子疾患に加え、糖尿病などで細胞移植による治療が一部進展する
心血管	5,400億円/ 300億	虚血性心疾患や重症下肢虚血で細胞移植やIn-vivo遺伝子治療使われ始め、市場が浸透していく	5,600億円/ 400億円	虚血性心疾患や重症下肢虚血で細胞移植やIn-vivo遺伝子治療の適応が拡大

再生医療・遺伝子治療の市場の80%以上をカバー

出所：開発品データベースよりアーサー・ディ・リトル分析

© Arthur D. Little Japan

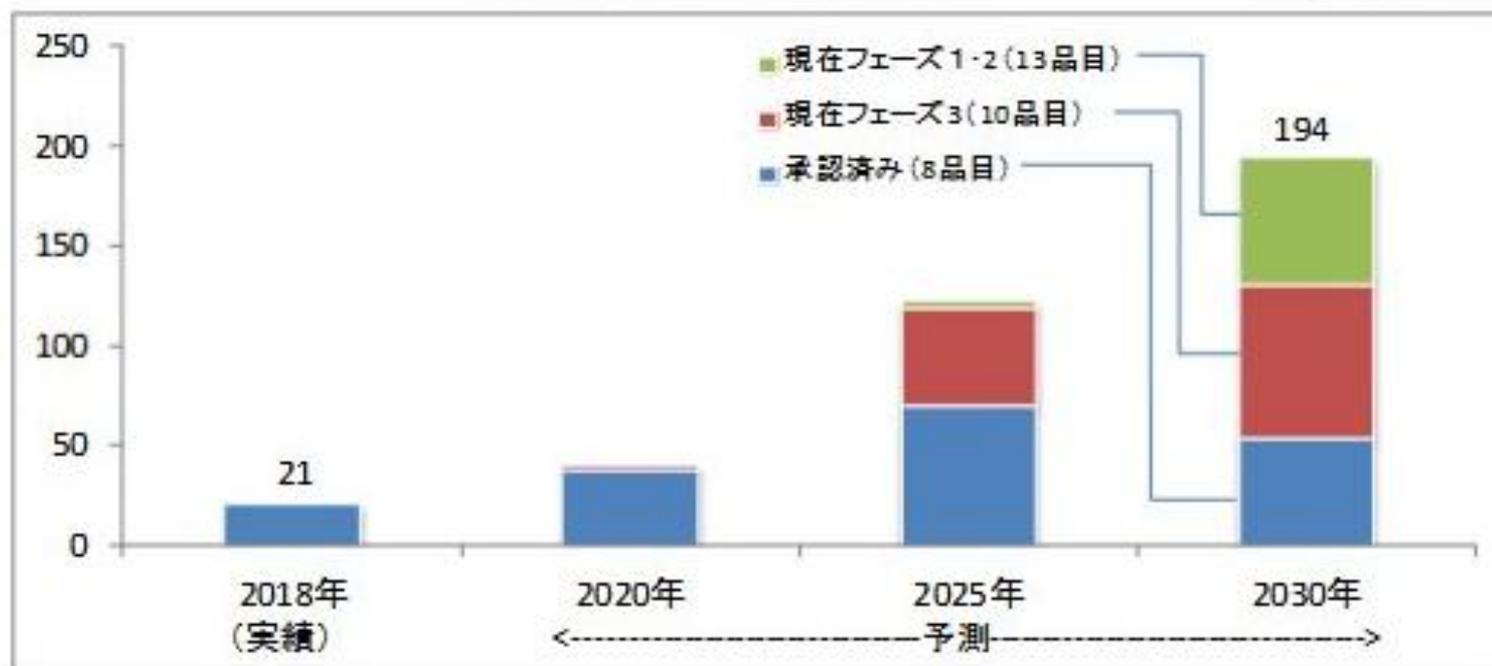
核酸医薬品の世界市場規模予測

核酸医薬品の世界市場規模は、

- 2018年の21億米ドルから2030年には194億米ドルに拡大、2018年比9倍強の市場となる
- 拡大の要因は、現在フェーズ3及び承認申請中の24品目中の10品目程度+現在フェーズ1・2の146品目中の13品目程度が 市場に登場する。

核酸医薬品の世界市場規模予測

(単位:億米ドル)



(シード・プランニング作成)

調査対象の核酸医薬品は、アンチセンス (ASO)、siRNA、ヘテロ2本鎖核酸 (HDO)、アプタマー、miRNA補充、その他 (デコイ核酸など)

遺伝子治療薬の市場規模予測

世界の遺伝子治療薬の市場規模は、年平均成長率（CAGR）が29.9%と予測され、2025年の136.5億米ドルから、2032年には628.5億米ドルまで成長すると予測



<https://www.intelmarketresearch.com/gene-therapy-market-22330>

市場の推進要因（マーケット・ドライバー）

● 遺伝子工学の進歩：

CRISPRやウイルスベクター技術の飛躍的進歩により、急速な成長を遂げています。現在300以上の臨床試験が進行中で、精密な遺伝子治療が可能になっています。

● 遺伝性疾患の罹患率上昇：

鎌状赤血球貧血、嚢胞性線維症、血友病などの症例増加が大きな需要を生んでいます。世界中で子供の約25人に1人が遺伝性疾患の影響を受けており、対症療法の年間コストは500億ドルを超えているため、根本治療（キユア）への期待が高まっています。

当社パイプラインに関連する患者数(概況)

製品・プロジェクト	国	患者数	Ref.
HGF遺伝子治療用製品	日本	閉塞性動脈硬化症 80万人 重症虚血肢 <u>13万人</u>	#1
	米国	閉塞性動脈硬化症 780万人 重症虚血肢 <u>100万人</u>	#2
NF-kBデコイオリゴDNA	日本	慢性腰痛症 371万人 椎間板性腰痛症 <u>167万人</u>	#3
高血圧DNAワクチン	米国	高血圧患者 12,000万人 治療患者数 <u>6,200万人</u>	#4
Tie 2 受容体アゴニスト	米国	急性呼吸窮迫症候群 <u>26万人</u>	#5

#1 IMS Health調査資料

#2 Foster Rosenblatt調査資料

#3 IQVIA調査資料

#4 AHA(<https://www.ahajournals.org/doi/epub/10.1161/CIR.0000000000000757>)

#5 Am J Resp Crit Care Med, Volume 195 Number 7

競争力の源泉

経営資源・競争優位性

- 1** 手術による治療ができない
重症下肢虚血の唯一の治療薬
- 2** 国内未販売の希少疾病医薬品の契約から発売まで
約2年で導入した実績
- 3** 希少遺伝性疾患の発見から治療効果の検証までを
カバーする検査体制を構築
- 4** 独自のOMNIヌクレアーゼにより
オフターゲットが少なく
特許問題の心配がないゲノム編集技術

HGF遺伝子治療用製品 開発状況

HGF遺伝子治療用製品

“血管を新生する遺伝子治療薬”

遺伝子治療とは

定の遺伝子を患者の体内に導入又は修正し
正常なタンパク質の働きを回復させ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（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、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(きよけつせい じっかん)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。

閉塞性動脈硬化症の治療

閉塞性動脈硬化症とは

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%と報告されており、
肺がんの死亡率80%に近い、生命予後に重大な影響を及ぼす重篤な疾患

がん治療の早期発見、早期治療と同様に
閉塞性動脈硬化症についても早期に治療を開始することが重要

軽度から中等度の閉塞性動脈硬化症(CLTI)の患者を対象として
後期第Ⅱ相臨床試験を実施し優れた結果を確認

FDAよりブレイクスルー・セラピーの指定を受ける

閉塞性動脈硬化症

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



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

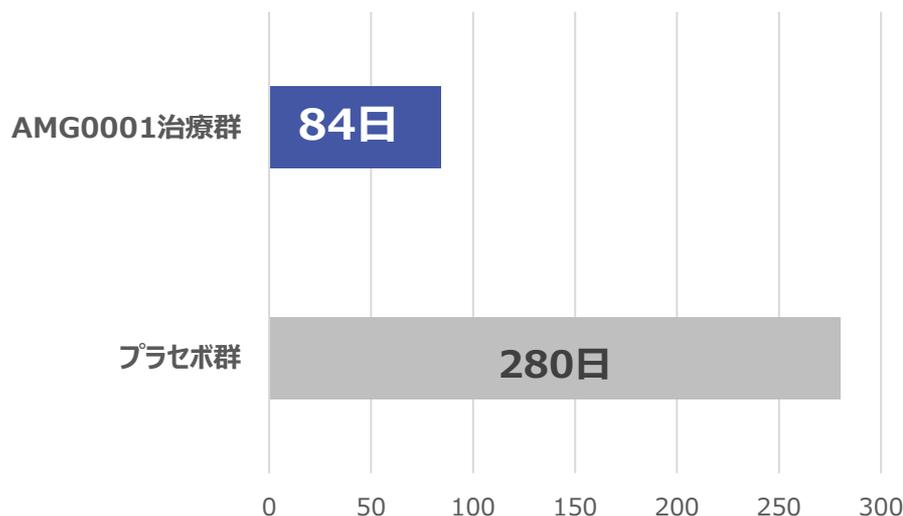
臨床試験の指導医のアドバイスにより、
CLTIの軽度から中等度の患者を対象に
 臨床試験を実施

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

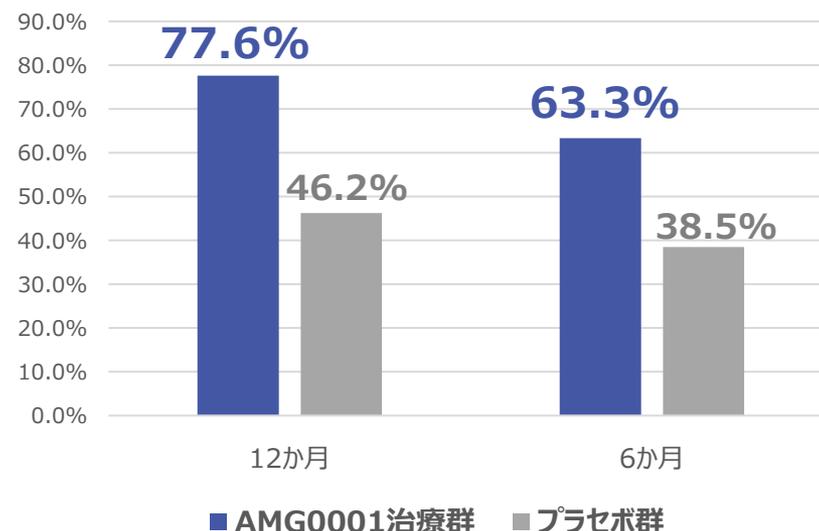
治癒までの期間（中央値）

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



※原著論文 (DOI:10.1161/CIRCINTERVENTIONS.125.015648)

※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。

FDAにおける生物製剤の申請プロセス

米国後期第Ⅱ相臨床試験の良好な結果を受けてFDAとの協議
臨床試験を終了とし、生物製剤認可申請(BLA申請)の準備中

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



HGF遺伝子治療用製品の開発状況

米国での開発方針決定

米国後期第Ⅱ相臨床試験の良好な結果を受けてFDAとの協議を重ね、臨床試験を完了とする米国での早期承認に向けて生物製剤認可申請(BLA)の準備を進める

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

米国での第Ⅱ相臨床試験 結果を論文発表

米国での第Ⅱ相臨床試験の良好な結果を
米国心臓学会の権威ある学術誌『Circulation: Cardiovascular Interventions』に掲載

FDAと臨床に関する申請方針に合意

米国FDAと、BLA申請に向けたType “B” Clinical Meetingを実施し
臨床に関する申請方針についてFDAと合意

NF- κ BデコイオリゴDNA 開発状況

NF-κBデコイオリゴDNAとは

NF-κBとは

活性酸素による酸化ストレスなどの刺激が外部から与えられた時にNF-κBが活性化して細胞が炎症反応や免疫反応を引き起こす主要な転写因子

炎症を引き起こす遺伝子がNF-κBにより過剰に活性化されると、**アトピー性皮膚炎や喘息などのアレルギー・免疫関連の疾患を悪化させる**

NF-κBデコイオリゴDNAとは

NF-κBが結合する配列を模したDNAを「おとり」として体内に投与することで**NF-κBが炎症を引き起こす遺伝子の転写調節配列に結合するのを阻害する**

椎間板性腰痛症の治療薬として開発を行っています

NF-κBデコイオリゴDNAの開発状況

北米脊椎学会（NASS）の公式学術誌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 I 相臨床試験結果の論文が掲載

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

[https://www.thespinejournalonline.com/article/S1529-9430\(25\)00203-7/fulltext](https://www.thespinejournalonline.com/article/S1529-9430(25)00203-7/fulltext)

国内第 II 相臨床試験※は**2026年中の登録完了を目指す**

※ 国内第 II 相臨床試験の完了時期は、登録者の選別に時間を要しているため1年間延長しています

Tie2受容体アゴニスト 開発状況

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受容体アゴニストは、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
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

Tie 2 受容体アゴニストの開発状況

急性呼吸窮迫症候群（ARDS）の治療薬として
前期第Ⅱ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年第1四半期での登録完了を目指す※

※ 前期第Ⅱ相臨床試験の登録は予定どおり2025年中に完了しましたが、登録者の一部で薬剤の投与に至らなかった症例があったため該当分の症例を追加しています

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

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。

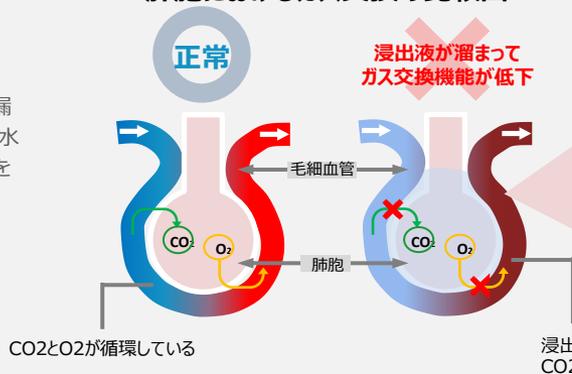
■ 現在の標準治療 (対症療法)

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)

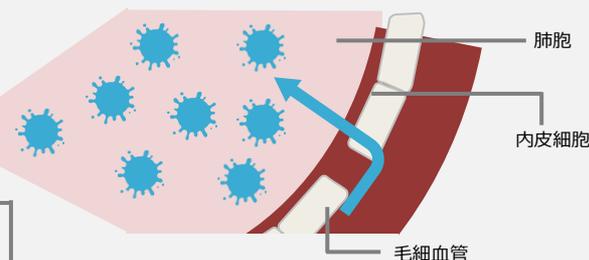
肺胞の拡大図

肺胞におけるガス交換の比較図



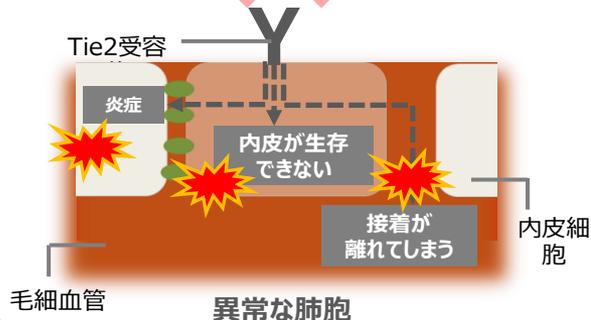
肺胞のさらなる拡大図

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。

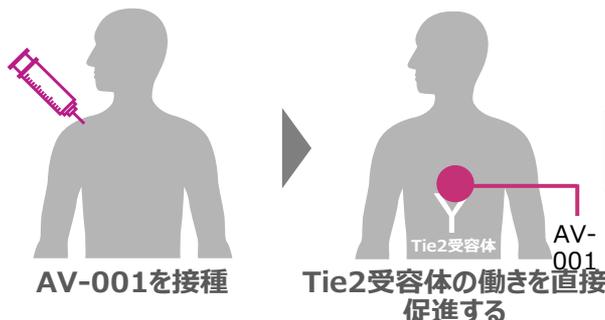


AV-001のメカニズム (血管の生理機能の維持・回復)

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



AV-001の今後の展開

新たに医師主導試験として
血液透析によって引き起こされる認知機能低下をまねく
細胞毒性による脳浮腫を軽減し脳の白質の機能維持を評価する

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

AV-001の対象疾患をすべての疾患に拡大する契約を締結

早老症治療薬「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

米国等の多くの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)



【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 mg/ m² (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 mg/m²(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。

DNAワクチン

スタンフォード大学との取り組み

安全でより効果の高いワクチンのために経鼻投与製剤の研究開発

改良型DNAワクチン

プラットフォームの見直し プラスミドの発現効率、導入効率の向上

経鼻投与製剤 広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止・拡散の阻止

【経鼻投与とは】

新型コロナウイルスやインフルエンザ、風邪などの原因となるウイルスや細菌は鼻や口、喉といった「上気道」や、腸管などの「消化管」の粘膜を侵入口として体内に入り込もうとします。上気道や消化管には感染から身を守るための「粘膜免疫」という仕組みがあり、ウイルスを迎え撃ちます。

粘膜に分泌されるタイプの「IgA」という抗体が鼻や喉にできれば感染自体を防ぐ効果が高まる可能性があり、経鼻投与では、感染部位である、気道部分に免疫を作ることが期待されます。



脂質ナノ粒子 (LNP) を用いない
経鼻投与に用いる薬物送達システム (DDS) を開発

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

希少疾患とは？

通常、糖尿病や心疾患などの、より一般的な疾患と比較して患者数が極めて少ない疾患と定義され、多様性のある疾患群をいう
希少疾患は重度で慢性的な症状である傾向があり、多くの場合、進行性かつ衰弱性で生命を脅かす疾患である

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

希少疾患の患者数はどれくらいか？



世界全体で
3億5,000万人

希少疾患の原因は何か？



希少疾患の
80%は遺伝性

希少疾患の種類はどれくらいか？



希少疾患は
5,000~8,000種類

希少疾患と定義される国別の有病率（人口当たりの患者数）

米国



10,000人当たり
 7.5人以下
 (患者数200,000人未満)

EU



10,000人当たり
 5人以下

日本



2,500人当たり
 1人以下

シンガポール



100,000人当たり
 約37人以下
 (患者数：20,000人未満)

ロシア



10,000人当たり
 1人以下

オーストラリア



10,000人当たり
 1人以下
 (患者数：年間2,000人未満)

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

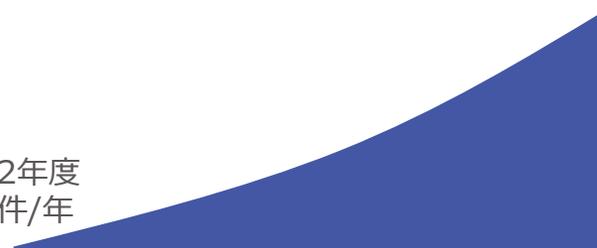
拡大新生児スクリーニング検査業務を受託

2025年度
9万件/年



©三輪晃久写真研究所

2022年度
1万件/年



今後は受託先を拡大
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)

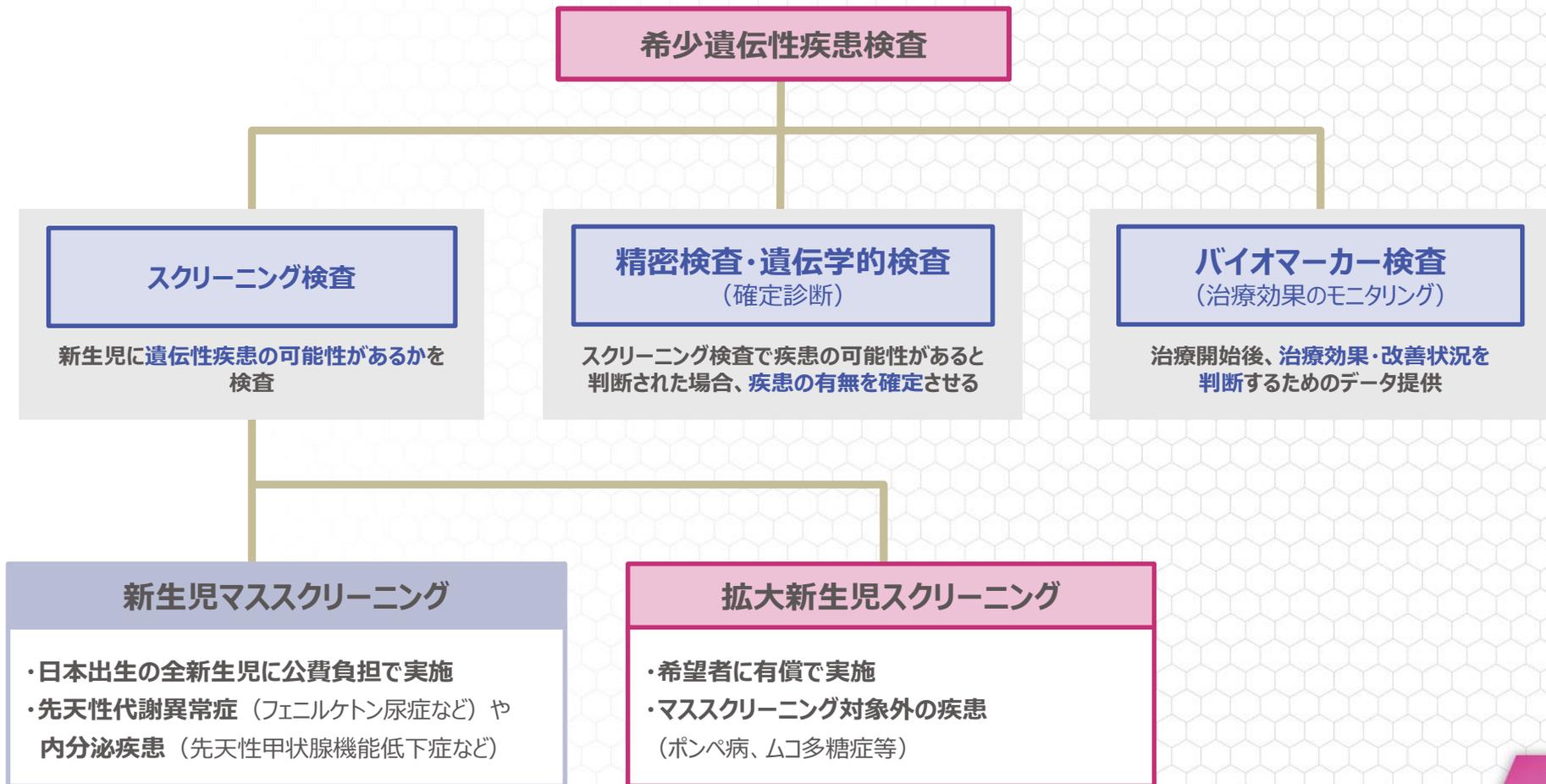
- 日本出生の全新生児に無償で実施
- 先天性代謝異常症 (フェニルケトン尿症など) や内分泌疾患 (先天性甲状腺機能低下症など)

拡大新生児スクリーニング

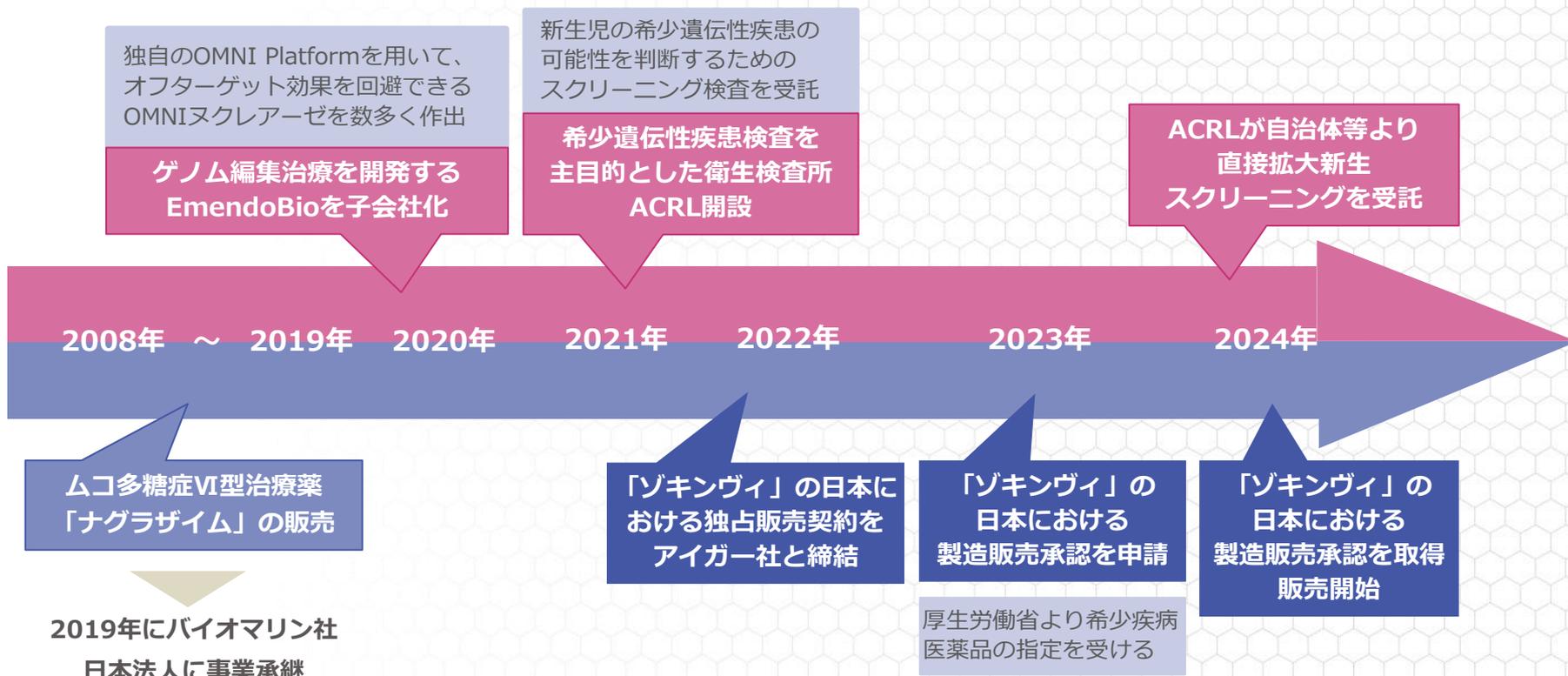
- 希望者に有償で実施
- マスクリーニング対象外の疾患 (SMA、SCID、ポンペ病、ムコ多糖症等)

希少遺伝性疾患の検査について

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。



希少疾患への取り組み



将来、ゾキンヴィが作用する仕組みで治療が期待できる疾患の研究も

ゲノム編集 EmendoBio

特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断するDNA切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して思遺伝子を改変する技術

★CRISPR/Cas9 クリスピーカスナイン

(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats/CRISPR-Associated Proteins 9)

→2012年、

これまでの技術より、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革新的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。

A T G C T T A A G C T
T A C G A A T T C G A

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



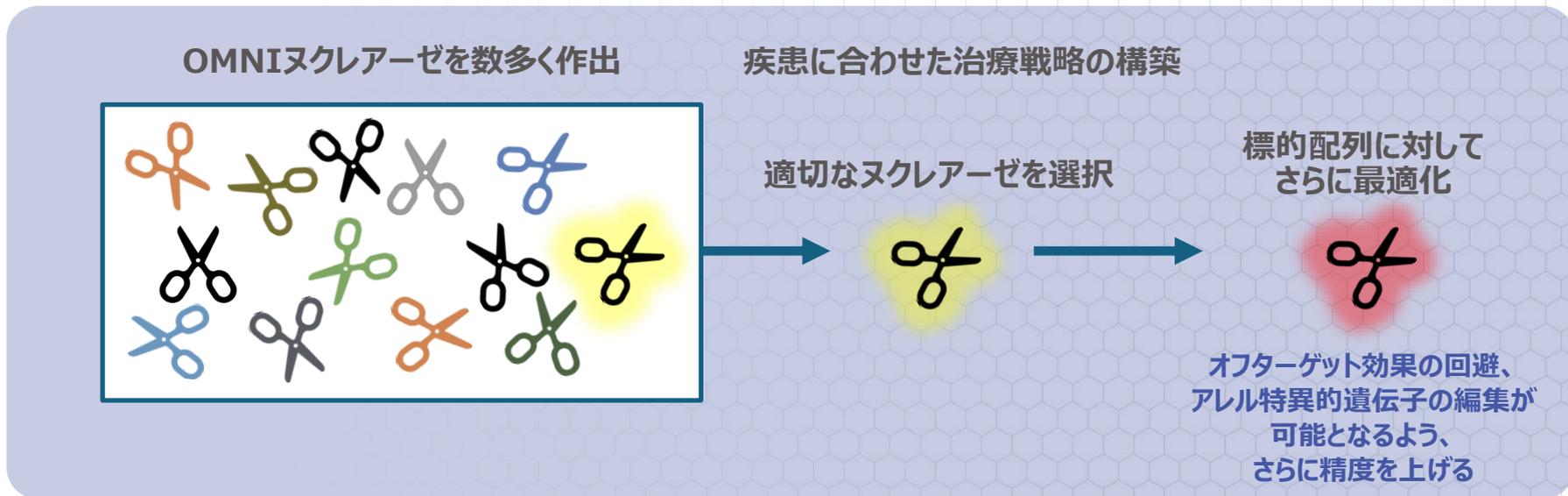
③誘導された場所の
特定の場所を切り取る。

ヌクレアーゼ
(酵素)



2020年ノーベル化学賞を受賞し、世界中で注目されている技術であり、ゲノム編集のヒトへの適用が待ち望まれています

独自プラットフォームの開発

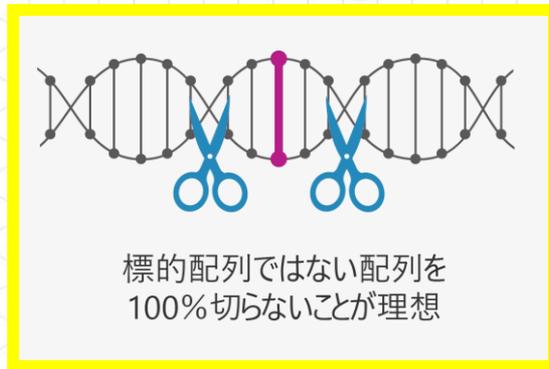
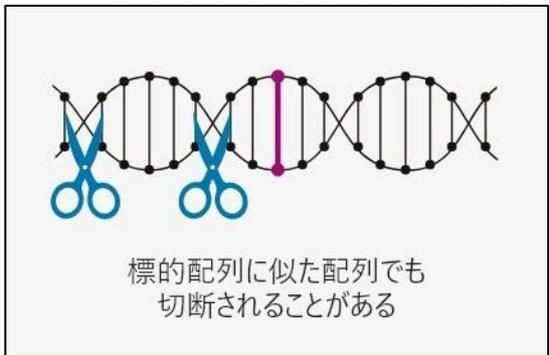


OMNI Platformの確立

EmendoBio社では、新たな特徴を持ったOMNIヌクレアーゼを数多く作出し、
 数多くのOMNIヌクレアーゼの中から適切なヌクレアーゼを選択して、
 それをさらに標的配列に対して最適化します

新たなヌクレアーゼの探索とその最適化技術によって、安全で有効な治療の開発を進めています

独自ヌクレアーゼでオフターゲット効果を低減



オフターゲット効果を回避することが重要

OMNI ヌクレアーゼ

①塩基配列を読み取る

```

A T G C T T A A G C T
T A C G A A T T C G A
    
```

②特定の場所を探し出す

ガイドRNA



③より精度高く、誘導された特定の場所を切り取る。

独自のヌクレアーゼ（酵素）



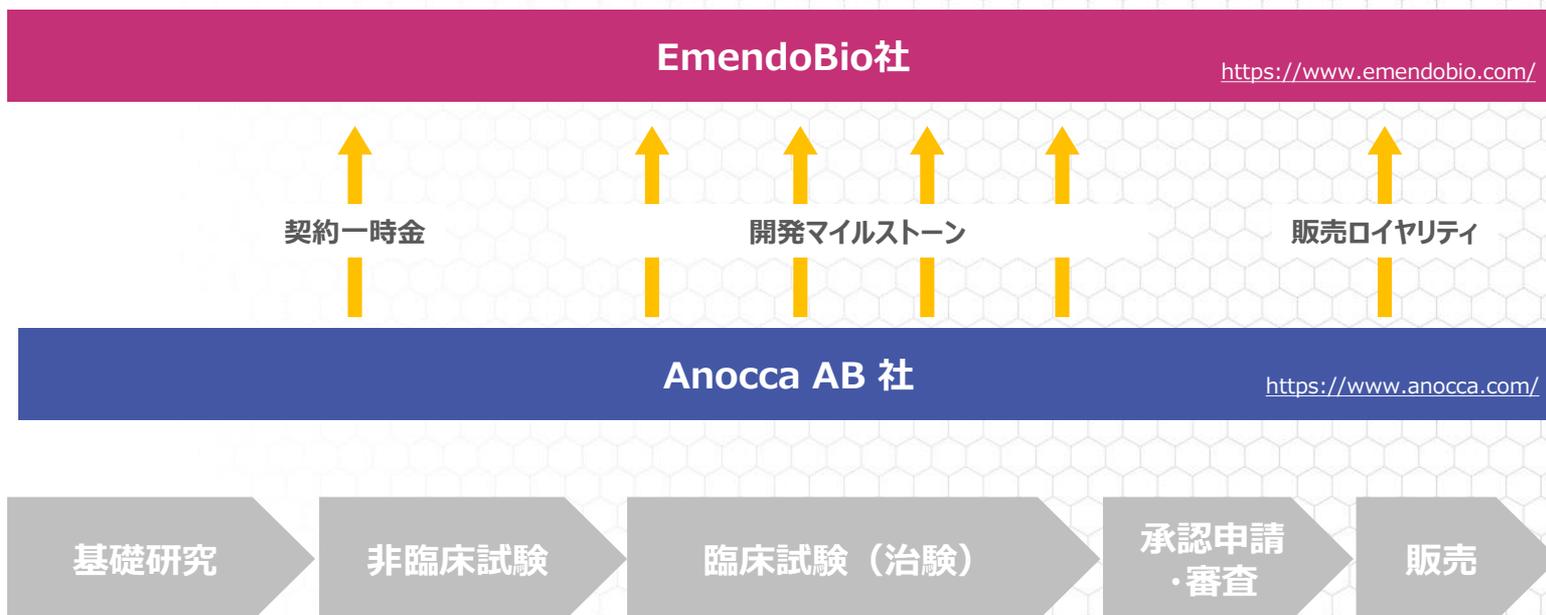
オフターゲット効果の低減

ライセンスビジネス

EmendoBio社がスウェーデンのAnocca AB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)

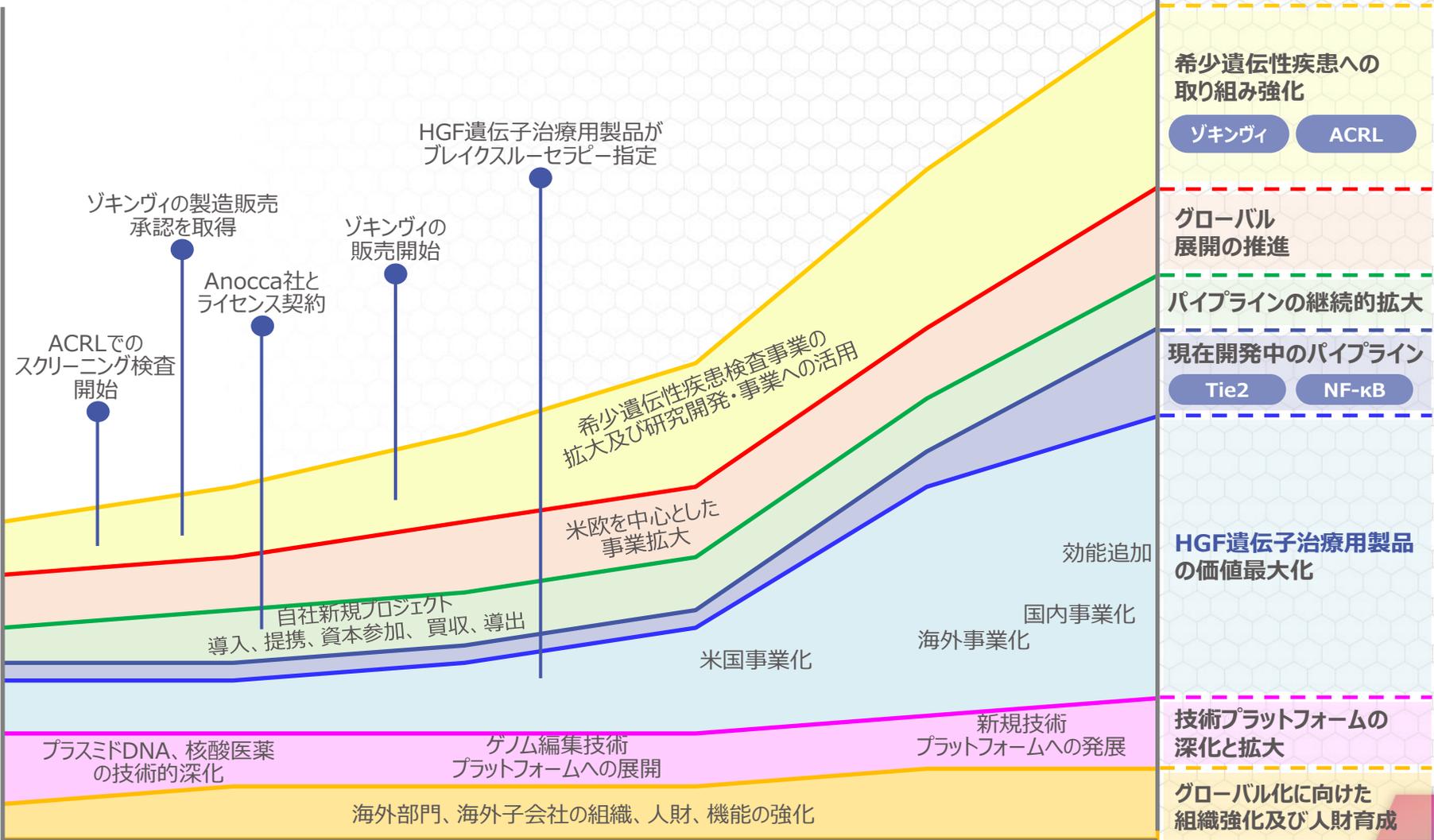
オフターゲット効果の少ないEmendoBio社独自のOMNIヌクレアーゼを使用し
固形がんのKRASタンパク質変異を標的としたTCR-T細胞療法の開発を進める



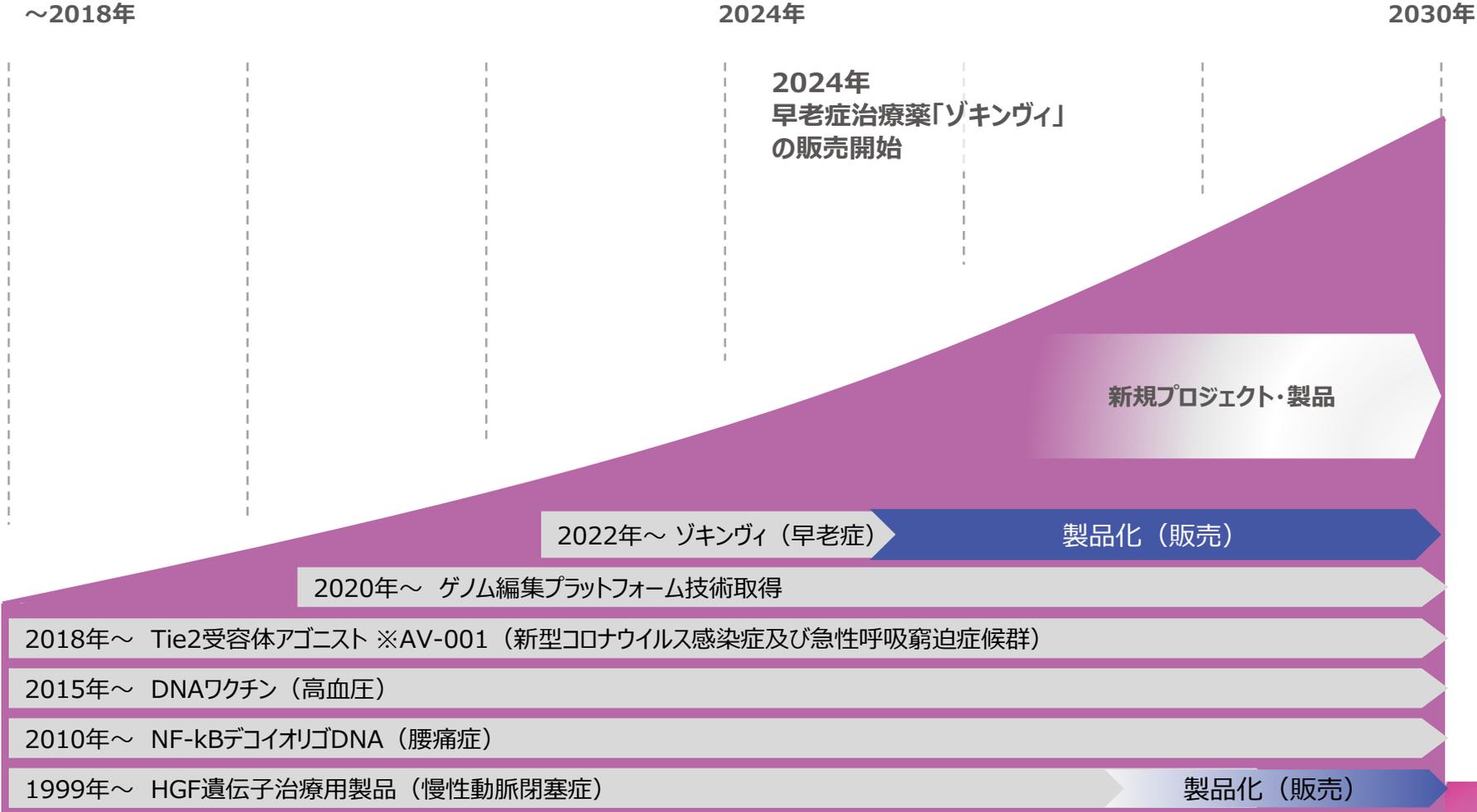
事業計画

成長戦略

アンジェスのバリュー



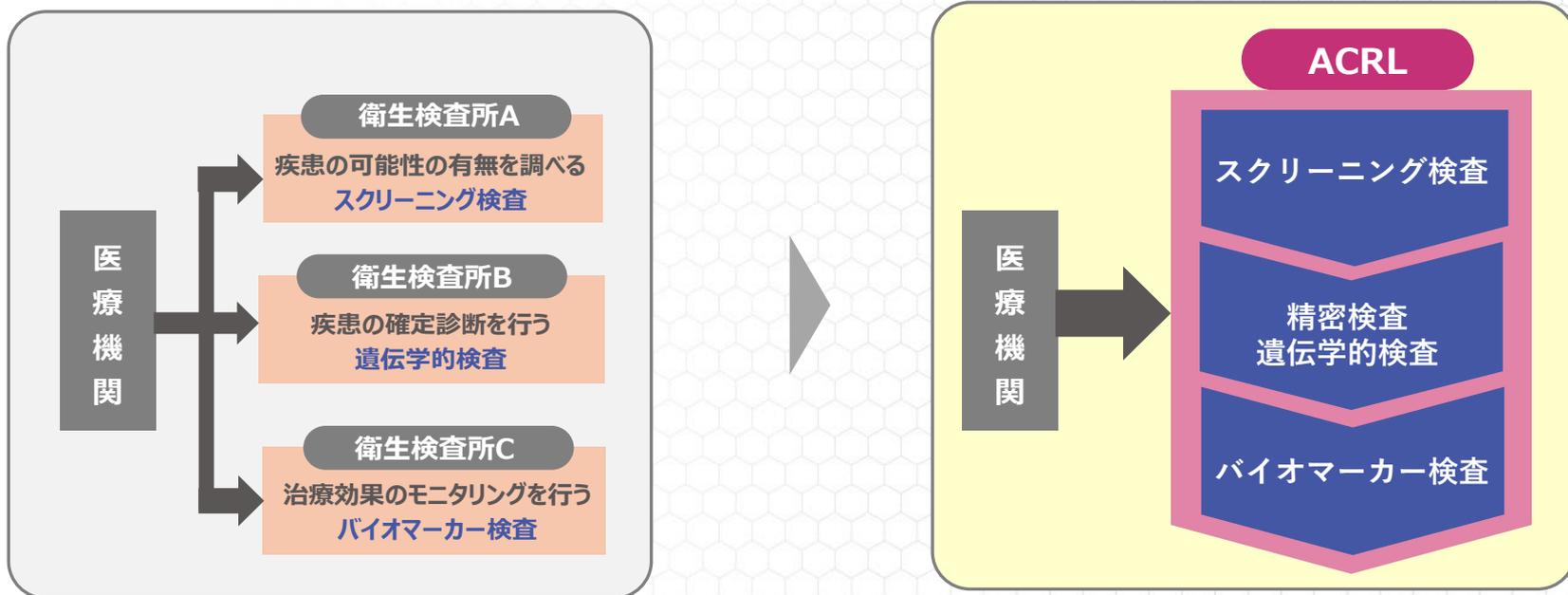
成長戦略：プロジェクトの推進及び製品化



成長戦略：ACRLによる検査体制の整備

国内で唯一、希少遺伝性疾患検査におけるワンストップ検査を可能に

事業収益性が見込めない等により、希少遺伝性疾患検査の全てを一つの検査機関で実施しているところが少ない中、ACRLでは、患者や医師が、複数の検査機関に依頼しなくても、「スクリーニング検査」や、疾患の確定診断を行う「遺伝学的検査」、治療効果のモニタリングを行う「バイオマーカー検査」と希少遺伝性疾患検査に必要な体制・機能を備える



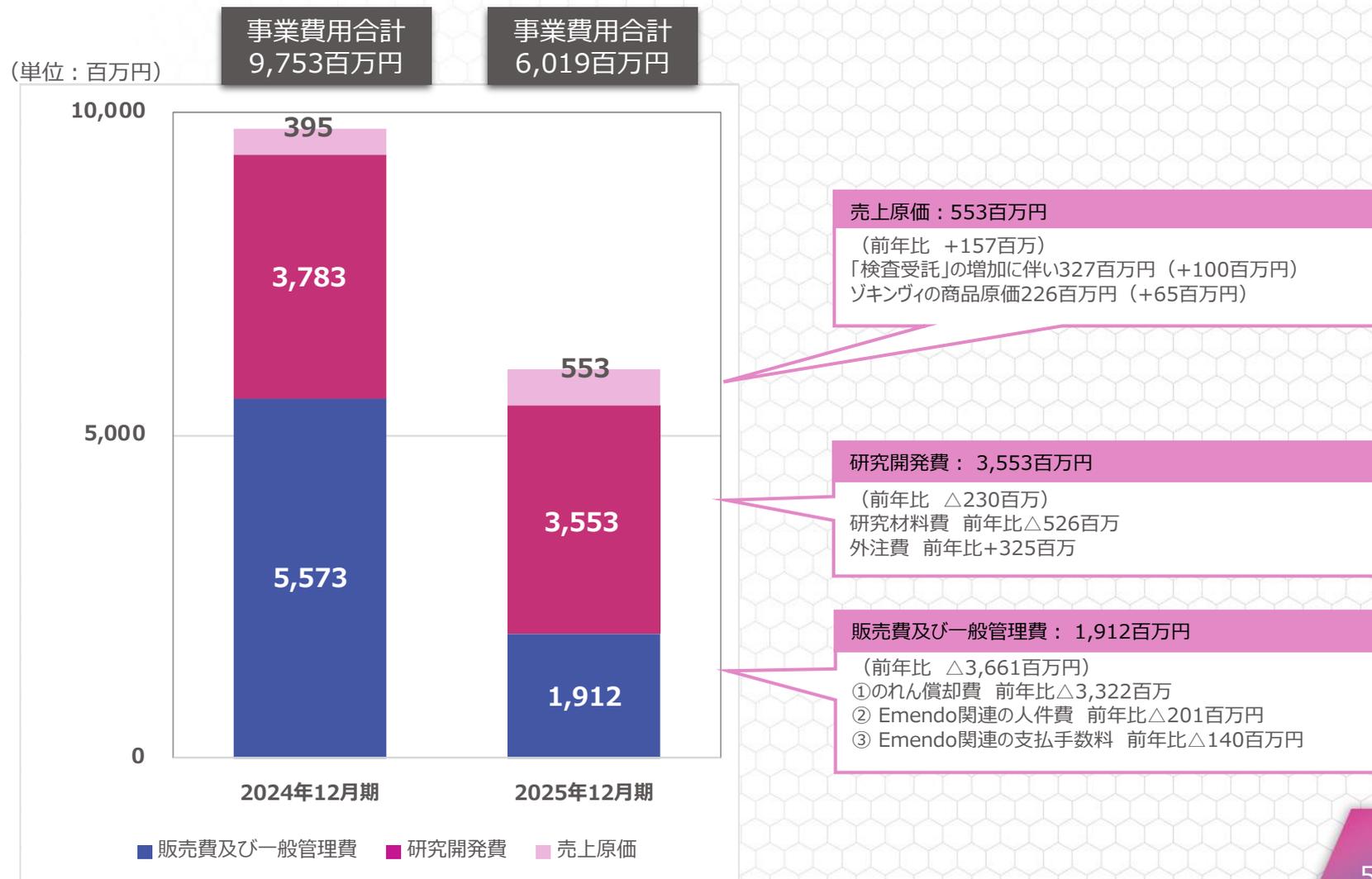
経営指標：2025年度 連結業績ハイライト

(単位：百万円)

	2024年12月	2025年12月	増減	2025年12月 見通し	2025年12月 実績	増減
事業収益	643	874	230	880	874	-5
事業費用	9,753	6,019	△3,733			
営業損益	△9,109	△5,145	3,964	△6,270	△5,145	1,124
営業外収支	1,571	△143	△1,714			
経常損益	△7,537	△5,288	2,249	△6,290	△5,288	1,001
特別損益	△20,105	52	20,158			
当期純損益	△28,128	△5,123	23,005	△6,320	△5,123	1,196

- ・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
- ・前年度の「のれん」の償却が無くなり事業費用は大きく減少、それに伴い営業損益も改善
- ・前期ののれんの減損処理による特別損失が無くなることにより当期純損益は大幅に改善

経営指標：事業費用の内容



経営指標：連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2024年12月末	2025年12月末	増減
流動資産	3,542	4,386	843
うち現金及び預金	1,707	1,882	174
固定資産	1,125	1,019	△106
総資産	4,668	5,405	737
負債	2,512	2,329	△182
純資産	2,156	3,076	919

流動資産

- 現預金 1,882百万円 (前年度末比+174百万円)
資金調達5,939百万円
- 原材料及び貯蔵品 (+308百万円)
- 製造委託費として前渡金 (+292百万円)

固定資産

- 固定資産 1,019百万円 (前年比△106百万円)

負債

- 買掛金 542百万円 (前年度末比+235百万円)
- リース債務 流動負債 (△109百万円)
固定負債 (△108百万円)

純資産

- 資本金 (+2,972百万円)
- 資本剰余金 (+2,973百万円)
- 当期損失による利益剰余金 (△5,123百万円)

利益計画：2026年度通期業績見通し

(単位：百万円)

	事業収益	営業損益	経常損益	当期純損益
2026年度 通期 計画	1,330	△10,230	△10,240	△10,250
2025年度 通期 実績	874	△5,145	△5,288	△5,123
増減	456	△5,085	△4,952	△5,127

2026年度 通期業績見通しのポイント

- ・ゾキンヴィの販売が増加する計画
- ・ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数は微増
- ・HGF遺伝子治療用製品の米国での申請準備のための費用が増加
- ・HGF遺伝子治療用製品の原薬製造費用が発生

資金調達に関する説明

2021年度に第41回新株予約権(第三者割当て)を発行し173億76百万円(新株予約権発行により調達いたしました。資金使途としては、以下の用途として使用しております。

内容	調達金額	充当済金額	2022/12期	2023/12期	2024/12期	2025/12期
Emendo社の運営資金	(百万円) 9,000	9,000	→			
運転資金	5,300	5,300	→			
海外企業の買収や資本参加による事業基盤拡大	347	347	→			
新規製品・プロジェクトの獲得資金	171	171	→			
VasomuneとARDS治療薬の共同研究費	556	556	→			
運転資金	458	458	→			
その他の手段による事業基盤拡大	1,544	1,544	→			
合計	17,376	17,376				

※充当金額は2025年12月31日時点

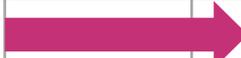
資金調達に関する説明

2022年度に第42回新株予約権(第三者割当て)を発行し、45億99百万円を調達いたしました。その資金使途はEmendo社の運営資金です。

内容	調達予定金額	充当済金額	2022/12期	2023/12期	2024/12期	2025/12期
Emendo社の運営資金	(百万円) 4,599	4,599				
合計	4,599	4,599				

※充当金額は2025年12月31日時点

2023年度に第43回新株予約権(第三者割当て)を発行し、12億6百万円を調達いたしました。資金使途としては、以下の用途で使用しております。

内容	調達予定金額	充当済金額	2023/12期	2024/12期	2025/12期
慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬の正式承認に向けた製造販売費用及びグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	(百万円) 906	906			
早老症治療剤「ゾキンヴィ」の正式承認に向けた製造販売費用	110	110			
慢性椎間板性腰痛症治療用NF-kBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用	190	190			
合計	1,206	1,206			

※充当金額は2025年12月31日時点

資金調達に関する説明

2024年度に新株予約権付社債(第三者割当及び第44回新株予約権を発行し、27億58百万円を調達いたしました。資金使途としては以下の用途で使用しております。

内容	調達予定金額 (百万円)	充当済金額	2024/12期	2025/12期
慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬のグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	377	377		
早老症治療剤「ゾキンヴィ」の上市に向けた製造販売費用	333	333		
慢性椎間板性腰痛症治療用NF-kBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用	59	59		
運転資金	2,029	2,029		
合計	2,758	2,758		

※充当金額は2025年12月31日時点

資金調達に関する説明

2024年度に第1回無担保社債及び第45回新株予約権を発行し、2025年12月31日までに全て行使され、70億71百万円を調達いたしました。資金使途としては、以下の用途で使用しております。

内容	調達予定金額	充当済金額	2024/12期	2025/12期	2026/12期
慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬のグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	(百万円) 3,878	3,878	→		
早老症治療剤「ゾキンヴィ」の上市後の製造販売費用	512	512	→		
慢性椎間板性腰痛症治療用NF-kBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用	588	581	→		
運転資金	2,093	2,093	→		
合計	7,071	7,064			

※充当金額は2025年12月31日時点

資金調達に関する説明

2025年度に第46回新株予約権を発行し、2025年12月31日までにその一部が行使され、1億79百万円を調達いたしました。予定調達額は約69億円で、資金使途としては、以下の用途で使用しております。

内容	調達予定金額	充当済金額	2025/12期	2026/12期	2027/12期
慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬のグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	(百万円) 3,087	555	→		
ACRLの検査受託事業拡大費用	590	0	→		
EmendoBio社の研究開発拠点移転費用	1,000	0	→		
その他の研究開発費を含む運転資金	2,244	3	→		
合計	6,921	558			

※充当金額は2026年2月28日時点

リスク情報

認識するリスク及び対応策

リスクの内容	発生可能性	発生時期	影響度	対応策
<p>研究開発について 一般に新薬の開発には、長期に亘る期間と多額の費用が必要ですが、症例数を適時確保できないなどの理由で計画通り進行せずに遅延する可能性や、様々な試験の結果、期待した有効性を確認できなかったり、安全性に関する許容できない問題が生じるなどの理由で研究開発を中止するリスクがあります。</p>	中	中長期	大	<p>成功確度の高い適応症の選択 社内での議論及びアカデミアとの連携をとおして開発の成功確度の高い適応症を選択して研究開発を行います。</p> <p>CRO（医薬品開発業務受託機関）との連携 臨床試験及び非臨床試験の実施に係る各種業務を支援・代行するCROとの連携強化により、試験計画に沿って遅延なく諸試験を進めます。</p> <p>パイプラインの継続的な維持・拡大 研究開発の中止が事業計画に及ぼす影響を最小限にするために、継続的にパイプラインの維持・拡大をはかります。</p>
<p>遺伝子治療の現状と事業展開について 遺伝子治療薬は、未だ本格的な普及に至っておらず先進国で承認された製品は数例に留まっております。現在米国におけるHGF遺伝子治療用製品の臨床試験や椎間板性腰痛を対象としたNF-κBデコイオリゴDNA及び高血圧を対象としたDNAワクチンの臨床試験などを実施しておりますが、実用化に至らないリスクがあります。</p> <p>ゲノム編集の実用化について ゲノム編集技術は新規性が高く、未知の領域であり承認事例も数例しかありません。規制についても未整備であり、事業化への道筋は明確になっておりません。</p>	中	中長期	大	<p>アカデミアとの連携により成功確度の向上 世界トップレベルのアカデミアとの連携により成功確度の向上を目指し実用化を図ります。</p> <p>事業基盤の拡大 自社のプラットフォーム技術であるプラスミドをベースとした遺伝子治療薬に加え、ライセンス導入や共同開発、新たな創薬プラットフォーム技術の獲得を目指した事業提携、他社に対する資本参加や他社の買収等により開発品パイプラインの拡充による事業基盤の拡大を図り遺伝子治療の世界でグローバルリーダーを目指してまいります。</p> <p>オフターゲット効果の徹底的な排除 ゲノム編集に使用するヌクレアーゼに最適なものを使用することで、予期せぬ遺伝子の変異を極力防ぎ、安全なゲノム編集を目指します。</p>

認識するリスク及び対応策

リスクの内容	発生可能性	発生時期	影響度	対応策
<p>継続企業の前提に関する重要事象等について 医薬品事業は、製品化までに多額の資金と長い時間を要する等の特性があり、創薬ベンチャーである当社グループにおいては、先行した研究開発投資を行っております。このため、継続した営業損失の発生及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上していることから、継続企業の前提に関する重要な不確実性が存在しております。</p>	中	中期	中	<p>開発プロジェクトにおける提携先の確保 現在開発中のプロジェクトは臨床実験が概ね予定通り進捗しており、早期に製薬会社への導出や新たな連携により、開発協力金やマイルストーンなどを受け取ることで開発コストの回収を図り財務リスクの低減を行って参ります。</p> <p>資金調達の取り組み 当社グループにとって、研究開発活動及び事業基盤の拡大は継続的な発展のために重要であり、状況に応じ機動的に資金調達を検討してまいります。</p> <p>情報開示の充実 当社グループのプロジェクトの将来性を正に評価いただけるよう、プロジェクトの進捗、事業環境など、当社グループの取り組みをはじめ、関連情報を丁寧に説明するよう取り組んでまいります。</p>

※上記以外のリスク情報については、有価証券報告書をご参照ください

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

