



## 2024年12月期 第3四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

2024年11月8日  
東

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所  
コード番号 4563 URL <https://www.anges.co.jp/>  
代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 山田 英  
問合せ先責任者 (役職名) 経理部長 (氏名) 村上 由佳 (TEL) —  
配当支払開始予定日 —  
決算補足説明資料作成の有無 : 無  
決算説明会開催の有無 : 無

(百万円未満切捨て)

### 1. 2024年12月期第3四半期の連結業績(2024年1月1日~2024年9月30日)

#### (1) 連結経営成績(累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2024年12月期第3四半期	471	359.4	△7,042	—	△7,050	—	△7,156	—
2023年12月期第3四半期	102	123.6	△9,207	—	△4,720	—	△4,798	—

(注) 包括利益 2024年12月期第3四半期 △6,891百万円( —%) 2023年12月期第3四半期 △3,220百万円( —%)

	1株当たり 四半期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益
	円 銭	円 銭
2024年12月期第3四半期	△32.30	—
2023年12月期第3四半期	△25.69	—

(注) 当社では、四半期連結損益計算書において事業収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

#### (2) 連結財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2024年12月期第3四半期	25,128	22,214	87.9
2023年12月期	28,892	26,103	90.0

(参考) 自己資本 2024年12月期第3四半期 22,094百万円 2023年12月期 26,007百万円

### 2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2023年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2024年12月期	—	0.00	—	—	—
2024年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

### 3. 2024年12月期の連結業績予想(2024年1月1日~2024年12月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する当期純利益		1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	600	292.2	△8,450	—	△8,450	—	△8,650	—	△37.54

(注) 直近に公表されている業績予想からの修正の有無 : 無

(注) 当社では、連結損益計算書において事業収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

※ 注記事項

- (1) 当四半期連結累計期間における連結範囲の重要な変更 : 無
- (2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無
- (3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示
- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 無
- ② ①以外の会計方針の変更 : 無
- ③ 会計上の見積りの変更 : 無
- ④ 修正再表示 : 無

(4) 発行済株式数 (普通株式)

① 期末発行済株式数 (自己株式を含む)	2024年12月期 3 Q	256,869,550株	2023年12月期	198,470,300株
② 期末自己株式数	2024年12月期 3 Q	205株	2023年12月期	92株
③ 期中平均株式数 (四半期累計)	2024年12月期 3 Q	221,546,243株	2023年12月期 3 Q	186,740,724株

※ 添付される四半期連結財務諸表に対する公認会計士又は監査法人によるレビュー : 無

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P.6「1. 当四半期決算に関する定性的情報 (4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報	2
(1) 経営成績に関する説明	2
(2) 財政状態に関する説明	3
(3) 研究開発活動に関する説明	3
(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明	6
(5) 継続企業の前提に関する重要事象等	6
2. 四半期連結財務諸表及び主な注記	8
(1) 四半期連結貸借対照表	8
(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書	10
四半期連結損益計算書	10
第3四半期連結累計期間	10
四半期連結包括利益計算書	11
第3四半期連結累計期間	11
(3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項	12
(セグメント情報等の注記)	12
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	12
(継続企業の前提に関する注記)	12
(キャッシュ・フロー計算書に関する注記)	14
(重要な後発事象)	14

## 1. 当四半期決算に関する定性的情報

### (1) 経営成績に関する説明

当社グループ(当社及び連結子会社3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、研究開発を行う創薬系のバイオベンチャーです。遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して、自社における医薬品の開発及び開発パイプラインの拡充のための国内外企業との共同開発、業務提携、資本参加等を積極的に行っています。また、希少遺伝性疾患の有無を調べるスクリーニング検査や、主に希少疾患向けに海外で販売されていて、日本国内では販売されていない医薬品の国内への導入などにも積極的に取り組んでおります。

当第3四半期連結累計期間の事業収益は前年同期に比べ3億68百万円増加し4億71百万円(前年同期比359.4%増)となりました。当社グループでは、2024年5月27日より早老症治療薬「ゾキンヴィ」の販売を開始し、1億85百万円の商品売上高を計上しております。また、HGF遺伝子治療用製品コラテジェンは、条件及び期限付製造販売の承認を取得し、2019年9月から田辺三菱製薬株式会社(以下、「田辺三菱製薬」といいます。)より販売してまいりました。2023年5月に条件解除に向けた製造販売承認申請を提出いたしましたが、2024年6月に上記承認申請を一旦取り下げ、それに伴い上記承認の期限が満了し、販売を終了いたしました。この結果、製品売上高は11百万円となり、前年同期より3百万円減少しております。一方、アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(以下、「ACRL」といいます。)においては、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会(以下、「CreARID」といいます。)が展開する拡大新生児スクリーニングに加え、公益財団法人群馬県健康づくり財団、埼玉県立小児医療センターからも拡大新生児スクリーニングの受託を開始しました。このように拡大新生児スクリーニングの受託数が前年同期に比べ順調に増加していることから、手数料収入として1億99百万円(同1億25百万円の増加)を計上いたしました。さらに、当社連結子会社のEmendoBio Inc.(以下、「Emendo社」といいます。)が開発したゲノム編集のためのOMNIスクレアーゼの非独占的使用権について、スウェーデンのAnocca AB(以下、「Anocca社」といいます。)とライセンス契約を締結し、契約一時金を研究開発事業収益として75百万円計上いたしました。

当第3四半期連結累計期間における事業費用は、前年同期に比べ17億96百万円減少し、75億13百万円(同19.3%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ1億94百万円増加し、2億85百万円(同215.5%増)となりました。2024年5月より販売を開始したゾキンヴィにかかる商品売上原価は、1億22百万円となっております。また、コラテジェンにかかる製品売上原価は、前年同期において計上していた使用期限切れによる廃棄が見込まれる製品の評価損3百万円が当第3四半期連結累計期間には発生が無かったことなどから、前年同期に比べ6百万円減少し、8百万円(同43.3%減)となっております。ACRLにおける拡大新生児スクリーニング検査にかかる原価は、受託数の増加に伴い前年同期に比べ78百万円増加し、1億55百万円(同103.3%増)となりました。

研究開発費は、前年同期に比べ19億10百万円減少し、29億28百万円(同39.5%減)となりました。主にEmendo社において、事業再編成に伴う人員の減少により給料手当が5億24百万円、賞与手当が1億59百万円、法定福利費が1億54百万円減少しております。コラテジェン製造関連費用及びEmendo社における製造費用等の減少により外注費が6億12百万円減少しております。ゾキンヴィの導入にかかる費用の減少により支払手数料が1億74百万円減少しております。

当社グループのような研究開発型バイオベンチャー企業は先行投資が続きますが、提携戦略などにより財務リスクの低減を図りながら、今後も研究開発投資を行っていく予定です。研究開発の詳細については、本決算短信「(3) 研究開発活動に関する説明」をご参照ください。

販売費及び一般管理費は前年同期に比べ81百万円減少し、42億99百万円(同1.9%減)となりました。主にEmendo社において、事業再編成に伴う人員の減少により役員報酬が98百万円、賞与手当が1億7百万円、法定福利費が36百万円、旅費交通費が45百万円減少しましたが、為替の円安に伴い、Emendo社買収に伴うのれん償却額が前年同期より2億17百万円増加しております。

この結果、当第3四半期連結累計期間の営業損失は70億42百万円(前年同期の営業損失は92億7百万円)となりました。

営業外損益においては、主にEmendo社への貸付金の評価替を行った結果、円安による為替変動の影響により、為替差益が8百万円発生しております(前年同期は15億62百万円の為替差益)。前年同期において、主に国立研究開発法人日本医療研究開発機構(以下「AMED」といいます。)より「新型コロナウイルス(COVID-19)を標的としたDNAワクチン臨床開発」に関する助成金29億21百万円の補助金収入を計上してまいりましたが、当第3四半期連結累計期間には当該助成金の計上はありません。当第3四半期連結累計期間においては、Vasomune Therapeutics, Inc.(以

下、「Vasomune社」といいます。)が米国において獲得した助成金について、当社開発費負担分に応じて27百万円を受領し、補助金収入に計上しております。

この結果、当第3四半期連結累計期間の経常損失は70億50百万円(前年同期の経常損失は47億20百万円)となりました。

Emendo社において、同社の研究開発部門の再編成に伴う事業構造改革費用21百万円を特別損失として計上しております。

これらの結果、当第3四半期連結累計期間の親会社株主に帰属する四半期純損失は71億56百万円(前年同期の親会社株主に帰属する四半期純損失は47億98百万円)となりました。

## (2) 財政状態に関する説明

当第3四半期連結会計期間末の総資産は前連結会計年度末に比べ37億63百万円減少し、251億28百万円となりました。

流動資産は前連結会計年度末に比べ13億73百万円減少し、45億47百万円となっております。2023年7月12日に発行したBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権、2024年4月5日に発行したCantor Fitzgerald Europeを割当先とする第1回無担保転換社債型新株予約権付社債及び第44回新株予約権が行使され、29億93百万円を調達いたしました。2024年9月17日にCantor Fitzgerald Europeを割当先とする第1回無担保社債及び第45回新株予約権を発行し、13億47百万円の払込が完了しております。現金及び預金はこれら資金調達があったものの、当期事業費用等の支払いにより前連結会計年度末に比べ12億44百万円減少し、29億16百万円となりました。当期より販売を開始したズキンヴィについて、商品を1億92百万円計上いたしました。使用期限切れによる廃棄が見込まれる材料の評価損の計上により、原材料及び貯蔵品が3億64百万円減少しております。

当第3四半期連結会計期間末の固定資産は前連結会計年度末に比べ23億90百万円減少し、205億81百万円となっております。Emendo社の社屋にかかるリース資産の減損により、使用権資産が1億41百万円減少しております。のれんは、償却により24億88百万円減少しておりますが、円安による為替変動の影響により米ドル建のれんの換算額が2億95百万円増加し、前連結会計年度末に比べ21億93百万円減少して195億53百万円となりました。

当第3四半期連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ1億24百万円増加し、29億13百万円となりました。前年度の費用の支払いにより、買掛金が2億77百万円、未払金が2億21百万円減少しております。前年度の消費税の納付により、未払消費税等が93百万円減少しております。Emendo社における事業構造改革費用の支払い及び前年度の費用の取消により、事業構造改革引当金が5億36百万円減少しております。Cantor Fitzgerald Europeを割当先とする第1回無担保社債の発行により、社債が13億円増加しております。

当第3四半期連結会計期間末の純資産は前連結会計年度末に比べ38億88百万円減少し、222億14百万円となりました。BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権、Cantor Fitzgerald Europeを割当先とする第1回無担保転換社債型新株予約権付社債、第44回新株予約権及び従業員によるストックオプションの行使により、資本金が15億1百万円、資本剰余金が14億77百万円増加しております。親会社株主に帰属する四半期純損失の計上により、利益剰余金が71億56百万円減少しております。主にのれんに係る為替変動の影響により、為替換算調整勘定が2億63百万円増加しております。

## (3) 研究開発活動に関する説明

当第3四半期連結累計期間における研究開発費は前年同期に比べ19億10百万円減少し、29億28百万円(前年同期比39.5%減)となりました。

当社グループは、“遺伝子医薬のグローバルリーダー”を目指し、遺伝子医薬を中心に医薬品の開発、実用化に取り組んでおります。また、究極の遺伝子治療といわれるゲノム編集は、これまで治療の難しかった疾患を対象とした研究開発が進められていますが、当社グループのEmendo社は、独自のゲノム編集技術の開発を進めており、ゲノム編集の分野でも難易度の高い技術を開発しております。さらに、ACRLにおいて、希少遺伝性疾患の検査として拡大新生児スクリーニングの受託を始め、遺伝学的検査、バイオマーカー検査における新たな疾患への取り組みなどを行っております。

さらに当社は国内外の企業と積極的に提携し、有望な医薬品の実用化に向けて共同開発を進めております。

以下に、当社グループの開発品並びに当社提携先の開発状況についてご説明いたします。

## 当社の開発プロジェクト

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 (ベペルミノゲンペルプラスミド)	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	—セラピー
	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)	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	→	→	→	前期実施中			

### ■HGF遺伝子治療用製品（一般名：ベペルミノゲンペルプラスミド）（自社品）

HGF遺伝子治療用製品の開発につきましては、米国での後期第Ⅱ相臨床試験の結果が良好であったことを踏まえ、今後は米国での開発を優先してまいります。

具体的な開発状況としては、米国において、下肢潰瘍を有する閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験の投与を2023年第1四半期に完了し、2024年6月に試験結果の速報値により、良好な結果を確認いたしました。この結果から、米国FDAによるブレイクスルー・セラピー（画期的新薬）に指定されました。今後の米国での開発計画については、FDAと協議を進めてまいります。なお、上記臨床試験結果につきましては、主導医師の論文が発表されたのちに、2024年末までに詳細をお知らせする予定です。

国内におけるHGF遺伝子治療用製品の開発について、2019年3月には国内初の遺伝子治療用製品「コラテジェン」として、慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善を効能効果として条件及び期限付承認を取得し、2019年9月10日より販売を開始し、2023年5月に条件解除に向けた製造販売承認の申請を厚生労働省に提出いたしました。その後、上記のとおり米国での後期第Ⅱ相臨床試験の結果速報値を確認し、日本国内の開発販売戦略を見直した結果、条件解除の申請を一旦取下げ、それに伴い上記承認の期限が満了し、販売を終了いたしました。今後の国内における承認申請につきましては、米国での開発の進捗を踏まえ、検討してまいります。

なお、コラテジェンの日本及び米国における田辺三菱製薬との販売権許諾契約については、それぞれ2024年11月1日及び2025年2月1日をもって解消する旨合意しています。

### ■NF-κBデコイオリゴDNA（自社品）

核酸医薬NF-κBデコイオリゴDNAについては、米国において椎間板性腰痛症を対象とした後期第Ⅰ相臨床試験を実施し、投与後の観察期間6ヶ月間に続き、12ヶ月間を経た結果でも、患者の忍容性は高い上、重篤な有害事象も認められず、安全性を確認できました。さらに、探索的にデータを評価したところ、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められ、有効性も確認できました。

当第3四半期においては、日本国内における第Ⅱ相臨床試験において順調に症例の登録を進めております。なお、当該試験に関して塩野義製薬株式会社と契約を締結し、費用の一部を負担いただくとともに、試験結果に基づき第Ⅲ相臨床試験の実施について協議する予定です。

### ■高血圧治療用DNAワクチン（自社品）

高血圧治療用DNAワクチンについては、オーストラリアでの第Ⅰ相/前期第Ⅱ相臨床試験は重篤な有害事象はなく、安全性に問題がないことを確認しました。今後の開発につきましては、プラスミドDNAの発現に関する改善策などの検討を進めてまいります。

### ■新型コロナウイルス感染症DNAワクチン（自社品）

2020年から2022年まで実施した研究開発の知見を活かし、プラスミドの発現効率や導入効率の向上等、プラットフォームの見直しを行い、並行して、将来発生する可能性のある新たな変異株を視野に入れた改良型DNAワクチン並びにワクチンの経鼻投与製剤の研究を米国スタンフォード大学と共同で実施しております。これまでの研究において薬剤のデリバリーシステムの改良に関する研究に進捗が見られております。

### ■Tie2受容体アゴニスト（共同開発品）

Tie2受容体アゴニスト（AV-001）は、カナダのバイオ医薬品企業であるVasomune社と共同開発契約を締結し、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12月より米国において第Ⅰ相臨床試験を実施し、安全

性と忍容性を確認いたしました。当初新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象としていましたが、その後、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが急速に進んだことに伴い、第Ⅱ相臨床試験の対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に広げるべく、開発計画を米国FDAと協議し、合意しました。当第3四半期は、季節的に対象疾患の患者が減少することから症例登録が計画よりも少なくなりました。今後も医療機関との連携を進め、2025年度第1四半期までに目標症例数の登録を目指します。

なおAV-001は、本年5月に米国FDAにより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優秀な医薬品をより早く患者に届けることを目的としたFast Trackに指定されました。医薬品がFast Track指定を受けると、医薬品開発及び審査プロセス全体を通じて、FDAと製薬会社間の早期かつ頻繁なコミュニケーションが可能となります。頻度の高いコミュニケーションにより、質問や問題が迅速に解決され、多くの場合、早期の医薬品承認と患者によるアクセスにつながります。

## Emendo社の開発プロジェクト

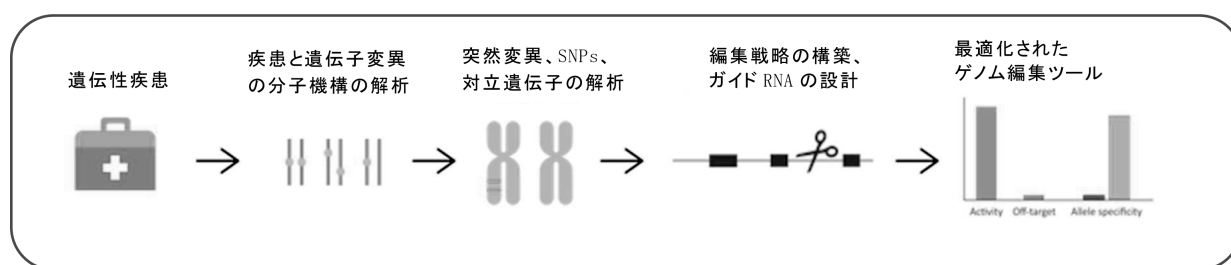
プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE 1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE関連重症先天性好中球減少症	▶			
		家族性高コレステロール血症・血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患	▶			

### ■ゲノム編集技術による遺伝子治療用製品開発

当社は、究極の遺伝子治療法ともいわれるゲノム編集技術を用いた遺伝子疾患治療に挑むため、2020年12月にゲノム編集における先進技術及びそれを活用した開発パイプラインを持つEmendo社を子会社化しました。Emendo社では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼ<sup>(※1)</sup>を探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、ゲノム編集でしばしば問題視される「オフターゲット効果」<sup>(※2)</sup>を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNI ヌクレアーゼ）を数多く作出し、特許を出願しております。

2024年に入り、知識集約的な研究開発体制に移行するための事業再編成を実施し、Emendo社のイスラエルにある研究施設における研究開発活動を効率化いたしました。また、イスラエルと周辺国との戦争が拡大する状況を踏まえ、イスラエルの研究所における研究成果を米国でバックアップする準備とともに、米国における研究開発活動及び導出等を進めるための体制づくりを進めております。

なお、2024年3月には、スウェーデンのバイオ企業であるAnocca社と、Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼの非独占的ライセンス契約を締結し、Anocca社が開発しているT細胞受容体改変T細胞（TCR-T）療法による固形がん等の治療にEmendo社の技術が使用されることとなりました。



※1 新規CRISPRヌクレアーゼ：ゲノム編集で使用する新たなRNA誘導型DNA切断酵素で、ガイドRNAで規定した塩基配列を識別し、その標的とした塩基配列を切断する。

※2 オフターゲット効果：ゲノム編集で、DNA鎖上の目的とする塩基配列以外の別の領域に、意図せぬ突然変異を引き起こしてしまうこと。

## 検査受託サービス及び提携先における開発状況

### ■希少遺伝性疾患検査を主目的としたACRLの検査受託

ACRLでは現在、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）が展開する「オプションスクリーニング」のほか、公益財団法人群馬県健康づくり財団、埼玉県立小児医療センターから拡大新生児スクリーニングを受託しております。この拡大新生児スクリーニングにおいて陽性となった受検者のうち、偽陽性の受検者を10分の1以下に減らすことが可能な二次スクリーニング検査方法を開発しており、その成果を2024年8月に開催された日本マススクリーニング学会で発表し、当社研究員が「若手優秀演題賞」を受賞いたしました。

これに加え、早老症治療薬ゾキンヴィの発売に伴い、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) の遺伝学的検査を受託できる体制を構築し、希少遺伝性疾患の確定のための遺伝学的検査の受託を開始しました。さらに、治療効果をモニタリングするバイオマーカーの検査については、実施体制の構築を進めており、希少遺伝性疾患のスクリーニングから診断、治療に至るまでの包括的な検査体制の提供を目指してまいります。

■マイクロバイームを用いた治療薬・サプリメントなどの開発

当社は、腸内細菌叢を利用した疾患治療薬や健康維持のサプリメントを開発しているイスラエルのMyBiotics Pharma Ltd. (以下「MyBiotics社」といいます。) と2018年7月に資本提携しております。MyBiotics社では、腸内細菌叢の微生物の構成を再現した培養物 (SuperDonor) の製造法を確立しており、クロストリジウム・ディフィシル感染症の治療薬MBX-SD-202の第I相臨床試験をイスラエルにおいて完了し、今後の開発について検討しております。

しかしながら、今般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響もあり、MyBiotics社における研究開発の継続が懸念されています。

(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

当期の見通しにつきましては2024年3月14日に連結業績予想として公表いたしましたとおり、事業収益6億円、営業損失84億50百万円、経常損失84億50百万円、親会社株主に帰属する当期純損失86億50百万円を見込んでおり、現時点で変更ありません。

事業収益及び事業費用につきましては、適宜精査を行っており、今期の見込み額に変更が生じ、業績予想に修正が必要と判断された場合には速やかに公表いたします。

(5) 継続企業の前提に関する重要事象等

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、創業ベンチャーである当社グループは、継続的に営業損失及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上している状況にあります。そのため、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような事象又は状況が存在しております。

当社グループは当該状況を解消すべく、下記を重要な課題として取り組んでおります。

①自社既存プロジェクトの推進

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

2019年3月に条件及び期限付承認を厚生労働省から取得した遺伝子治療用製品コラテジェンは、2023年5月に同省に条件解除に向けた製造販売承認の申請を行いました。非盲検下で実施した市販後調査では、二重盲検の国内第III相臨床試験成績を再現できなかったことから上記申請を一旦取り下げたことで承認の期限が満了し、販売を終了いたしました。

一方、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした同製品の後期第II相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、この度速報として良好な試験結果が得られ、米国食品医薬品局 (FDA) からブレイクスルーセラピー (Breakthrough Therapy designation) に指定されたことにより、審査期間の短縮や承認確度の向上が期待されます。今後は米国での開発に注力しつつ、国内での承認申請についても検討を進めます。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第I相臨床試験を完了し、2023年10月に日本国内における第II相臨床試験における最初の患者投与を実施し、予定どおり症例登録を進めております。

Vasomune社と共同開発しているARDSを対象とした治療薬Tie2受容体アゴニストは、米国における前期第II相臨床試験について2025年度第1四半期までに目標症例数の登録を目指します。

当社グループは、これら開発中の医薬品について今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

②開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高く開発品が必ず上市できる訳ではないことから、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月にEiger BioPharmaceuticals, Inc. (以下、「Eiger社」とい



ます。)と日本における独占販売契約を締結した早老症治療薬ゾキンヴィが、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認され、同年5月より販売を開始しております。なお、2024年4月に製造販売元であるEiger社が米国倒産法第11条の適用を申請し、2024年5月に「ゾキンヴィ」事業の譲渡先が米国のバイオ医薬品会社Sentyln Therapeutics, Inc.に決定しております。

また、事業基盤拡大のために、当社連結子会社のEmendo社において、究極の遺伝子治療ともいわれるゲノム編集治療の実用化に向けた開発を進めております。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼを探索・最適化するOMNI Platformを確立し、ゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。この成果として、同社が開発しているゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権をスウェーデンのAnocca社に供与する契約を2024年3月に締結いたしました。

さらに、ACRLにおける検査受託については、これまで順調に受託数を拡大している拡大新生児スクリーニング検査で、新たな自治体からの受託に向けた交渉を継続しております。これに加え、早老症治療薬ゾキンヴィの発売に伴い、HGPS及びPDPLの遺伝学的検査を受託できる体制を構築したほか、拡大新生児スクリーニングの対象疾患に対する遺伝学的検査の受託を開始しました。また、二次スクリーニングなどの用途でバイオマーカー検査の受託に向けた準備も進めております。

今後も、医薬品開発におけるライセンス導入や共同開発、他社に対する資本参加、海外で承認されている希少疾患を対象とした国内未承認薬の導入、開発によりアンメットメディカルニーズに応えることで、事業基盤の拡大を図り、将来の成長を実現してまいります。

#### ③開発プロジェクトにおける提携先の確保

当社グループでは、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・マイルストーンや開発協力金を受け取ることで財務リスクを低減しながら開発を進め、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを事業運営の基本方針としております。

これまでの提携状況といたしましては、コラテジェンに関しましては、田辺三菱製薬と締結していた日本と米国を対象とした独占的販売契約が終了となりますが、患者数が日本に比べて圧倒的に多い米国及び欧州の当該医療事情に精通している、欧米地域を中心にグローバル展開を行っていくことができるパートナーとの提携を検討しております。NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの日本国内における慢性椎間板性腰痛症を対象とした第Ⅱ相臨床試験では、塩野義製薬株式会社から臨床試験費用の一部負担などの協力を受けるとともに、続く第Ⅲ相臨床試験の実施について協議いたします。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

当社グループにとって、上記①②を実現するために機動的に資金調達を行うことは重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

2023年7月にBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権(第三者割当て)を発行し、調達開始から2024年3月末日までに12億5百万円を調達いたしました。また、2024年4月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回無担保転換社債型新株予約権付社債を発行し、13億円の調達を行い5月24日までにすべての当該社債が株式に転換されました。Cantor Fitzgerald Europeを割当先とした第44回新株予約権は6月14日から行使が開始され、2024年9月30日までに14億73百万円(新株予約権発行に伴う入金を含む)を調達いたしました。さらに、2024年9月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回無担保普通社債を発行し、13億円の調達を行いました。加えて、Cantor Fitzgerald Europeを割当先とした第45回新株予約権を発行しております。

今後も、研究開発活動推進及び企業活動維持のために必要となる資金調達の可能性を適宜検討してまいります。

しかしながら、現時点において、第45回新株予約権の行使は株価等の動向に左右されることから未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、当社は継続企業的前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業的前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。

## 2. 四半期連結財務諸表及び主な注記

## (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2023年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2024年9月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	4,160,424	2,916,414
売掛金	26,534	62,436
商品	-	192,213
製品	97,655	-
原材料及び貯蔵品	1,468,481	1,103,575
前渡金	49,674	55,458
前払費用	85,906	78,081
未収消費税等	-	135,328
その他	32,599	4,133
流動資産合計	5,921,276	4,547,641
固定資産		
有形固定資産		
建物	220,842	220,509
減価償却累計額	△135,121	△140,160
建物（純額）	85,721	80,349
工具、器具及び備品	149,893	166,089
減価償却累計額	△80,224	△108,677
工具、器具及び備品（純額）	69,669	57,412
使用権資産	267,728	125,899
有形固定資産合計	423,118	263,661
無形固定資産		
のれん	21,746,086	19,553,055
無形固定資産合計	21,746,086	19,553,055
投資その他の資産		
投資有価証券	355,545	363,694
敷金及び保証金	102,056	97,553
繰延税金資産	342,944	302,113
その他	1,509	1,088
投資その他の資産合計	802,055	764,450
固定資産合計	22,971,260	20,581,167
資産合計	28,892,536	25,128,809

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2023年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2024年9月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
買掛金	426,447	148,612
未払金	474,522	253,199
未払費用	36,947	25,773
事業構造改革引当金	558,129	21,422
未払消費税等	93,258	-
未払法人税等	103,147	129,229
前受金	637,550	640,150
預り金	15,434	14,607
リース債務	147,726	145,439
流動負債合計	2,493,163	1,378,436
固定負債		
社債	-	1,300,000
繰延税金負債	16,827	15,000
資産除去債務	64,430	64,515
リース債務	214,949	155,927
固定負債合計	296,207	1,535,444
負債合計	2,789,370	2,913,880
純資産の部		
株主資本		
資本金	35,053,890	36,555,005
資本剰余金	3,423,721	4,901,213
利益剰余金	△18,385,610	△25,542,434
自己株式	△31	△38
株主資本合計	20,091,969	15,913,745
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	24,757	26,422
為替換算調整勘定	5,891,202	6,154,533
その他の包括利益累計額合計	5,915,960	6,180,956
新株予約権	95,236	120,226
純資産合計	26,103,166	22,214,928
負債純資産合計	28,892,536	25,128,809

(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書

四半期連結損益計算書

第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年9月30日)
<b>事業収益</b>		
商品売上高	-	185,094
製品売上高	15,516	11,623
手数料収入	73,319	199,187
研究開発事業収益	13,824	75,725
事業収益合計	102,659	471,630
<b>事業費用</b>		
売上原価	90,454	285,341
研究開発費	4,839,262	2,928,655
販売費及び一般管理費	4,380,898	4,299,771
事業費用合計	9,310,615	7,513,768
営業損失(△)	△9,207,955	△7,042,138
<b>営業外収益</b>		
受取利息	8,172	2,925
為替差益	1,562,201	8,629
補助金収入	2,921,712	27,916
受取手数料	5,497	4,190
投資事業組合運用益	8,010	-
雑収入	0	-
営業外収益合計	4,505,593	43,662
<b>営業外費用</b>		
株式交付費	18,233	50,340
投資事業組合運用損	-	1,210
営業外費用合計	18,233	51,550
経常損失(△)	△4,720,595	△7,050,026
<b>特別利益</b>		
新株予約権戻入益	-	6,192
特別利益合計	-	6,192
<b>特別損失</b>		
投資有価証券評価損	1,693	-
事業構造改革費用	-	21,885
特別損失合計	1,693	21,885
税金等調整前四半期純損失(△)	△4,722,289	△7,065,719
法人税、住民税及び事業税	76,904	49,198
法人税等調整額	△967	41,906
法人税等合計	75,937	91,104
四半期純損失(△)	△4,798,226	△7,156,824
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)	△4,798,226	△7,156,824

四半期連結包括利益計算書  
第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年9月30日)
四半期純損失(△)	△4,798,226	△7,156,824
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	20,013	1,665
為替換算調整勘定	1,557,335	263,330
その他の包括利益合計	1,577,349	264,996
四半期包括利益	△3,220,877	△6,891,828
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△3,220,877	△6,891,828
非支配株主に係る四半期包括利益	-	-

### (3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項

(セグメント情報等の注記)

#### 【セグメント情報】

#### I 前第3四半期連結累計期間(自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

#### II 当第3四半期連結累計期間(自 2024年1月1日 至 2024年9月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

#### 前第3四半期連結累計期間(自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)

当社は、2023年1月1日から2023年9月30日までの間に、Cantor Fitzgerald & Co. 及びBofA証券株式会社から新株予約権の権利行使による払込みを受け、資本金及び資本剰余金がそれぞれ850,169千円増加しております。また、会社法第447条第1項及び会社法第448条第1項の規定に基づき、資本金を1,125,375千円、資本準備金を15,076,868千円減少し、その他資本剰余金へ振り替えております。この結果、当第3四半期連結累計期間において資本金が275,206千円、資本準備金が14,226,699千円減少し、当第3四半期連結会計期間末において資本金が34,871,162千円、資本剰余金が3,240,993千円となっております。

#### 当第3四半期連結累計期間(自 2024年1月1日 至 2024年9月30日)

当社は、2024年1月1日から2024年9月30日までの間に、従業員からストックオプションの権利行使、BofA証券から新株予約権の権利行使、Cantor Fitzgerald Europeから転換社債型新株予約権付社債及び新株予約権の権利行使による払込みを受けました。この結果、資本金及び資本剰余金がそれぞれ1,501,115千円増加し、当第3四半期連結会計期間末において資本金が36,555,005千円、資本剰余金が4,901,213千円となっております。

(継続企業の前提に関する注記)

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、創業ベンチャーである当社グループは、継続的に営業損失及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上している状況にあります。そのため、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような事象又は状況が存在しております。

当社グループは当該状況を解消すべく、下記を重要な課題として取り組んでおります。

#### ①自社既存プロジェクトの推進

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

2019年3月に条件及び期限付承認を厚生労働省から取得した遺伝子治療用製品コラテジェンは、2023年5月に同省に条件解除に向けた製造販売承認の申請を行いましたが、非盲検下で実施した市販後調査では、二重盲検の国内第Ⅲ相臨床試験成績を再現できなかったことから上記申請を一旦取り下げたことで承認の期限が満了し、販売を終了いたしました。

一方、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした同製品の後期第Ⅱ相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、この度速報として良好な試験結果が得られ、米国食品医薬品局 (FDA) からブレイクスルーセラピー (Breakthrough Therapy designation) に指定されたことにより、審査期間の短縮や承認確度の向上が期待されます。今後は米国での開発に注力しつつ、国内での承認申請についても検討を進めます。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第Ⅰ相臨床試験を完了し、2023年10月に日本国内における第Ⅱ相臨床試験における最初の患者投与を実施し、予定どおり症例登録を進めております。

Vasomune社と共同開発しているARDSを対象とした治療薬Tie2受容体アゴニストは、米国における前期第Ⅱ相臨床試験について2025年度第1四半期までに目標症例数の登録を目指します。

当社グループは、これら開発中の医薬品について今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

## ②開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高く開発品が必ず上市できる訳ではないことから、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月にEiger社と日本における独占販売契約を締結した早老症治療薬ゾキンヴィが、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認され、同年5月より販売を開始しております。なお、2024年4月に製造販売元であるEiger社が米国倒産法第11条の適用を申請し、2024年5月に「ゾキンヴィ」事業の譲渡先が米国のバイオ医薬品会社Sentyln Therapeutics, Inc.に決定しております。

また、事業基盤拡大のために、当社連結子会社のEmendo社において、究極の遺伝子治療ともいわれるゲノム編集治療の実用化に向けた開発を進めております。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼを探索・最適化するOMNI Platformを確立し、ゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。この成果として、同社が開発しているゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権をスウェーデンのAnocca社に供与する契約を2024年3月に締結いたしました。

さらに、ACRLにおける検査受託については、これまで順調に受託数を拡大している拡大新生児スクリーニング検査で、新たな自治体からの受託に向けた交渉を継続しております。これに加え、早老症治療薬ゾキンヴィの発売に伴い、HGPS及びPDPLの遺伝学的検査を受託できる体制を構築したほか、拡大新生児スクリーニングの対象疾患に対する遺伝学的検査の受託を開始しました。また、二次スクリーニングなどの用途でバイオマーカー検査の受託に向けた準備も進めております。

今後も、医薬品開発におけるライセンス導入や共同開発、他社に対する資本参加、海外で承認されている希少疾患を対象とした国内未承認薬の導入、開発によりアンメットメディカルニーズに応えることで、事業基盤の拡大を図り、将来の成長を実現してまいります。

## ③開発プロジェクトにおける提携先の確保

当社グループでは、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・マイルストーンや開発協力金を受け取ることで財務リスクを低減しながら開発を進め、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを事業運営の基本方針としております。

これまでの提携状況といたしましては、コラテジェンに関しましては、田辺三菱製薬と締結していた日本と米国を対象とした独占的販売契約が終了となりますが、患者数が日本に比べて圧倒的に多い米国及び欧州の当該医療事情に精通している、欧米地域を中心にグローバル展開を行っていくことができるパートナーとの提携を検討しております。NF- $\kappa$ BデクオリゴDNAの日本国内における慢性椎間板性腰痛症を対象とした第Ⅱ相臨床試験では、塩野義製薬株式会社から臨床試験費用の一部負担などの協力を受けるとともに、続く第Ⅲ相臨床試験の実施について協議いたします。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

## ④資金調達の実施

当社グループにとって、上記①②を実現するために機動的に資金調達を行うことは重要な課題と認識しており、以下のようにこの課題に取り組んでおります。

2023年7月にBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権（第三者割当て）を発行し、調達開始から2024年3月末日までに12億5百万円を調達いたしました。また、2024年4月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回無担保転換社債型新株予約権付社債を発行し、13億円の調達を行い5月24日までにすべての当該社債が株式に転換されました。Cantor Fitzgerald Europeを割当先とした第44回新株予約権は6月14日から行使が開始され、2024年9月30日までに14億73百万円（新株予約権発行に伴う入金を含む）を調達いたしました。さらに、2024年9月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回無担保普通社債を発行し、13億円の調達を行いました。加えて、Cantor Fitzgerald Europeを割当先とした第45回新株予約権を発行しております。

今後も、研究開発活動推進及び企業活動維持のために必要となる資金調達の可能性を適宜検討してまいります。

しかしながら、現時点において、第45回新株予約権の行使は株価等の動向に左右されることから未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、当社は継続企業の前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業の前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。

(キャッシュ・フロー計算書に関する注記)

当第3四半期連結累計期間に係る四半期連結キャッシュ・フロー計算書は作成しておりません。なお、第3四半期連結累計期間に係る減価償却費(のれんを除く無形固定資産に係る償却費を含む。)及びのれんの償却額は、次のとおりであります。

	前第3四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年9月30日)
減価償却費	2,281千円	10,439千円
のれんの償却額	2,271,122	2,488,147

(重要な後発事象)

1. 新株予約権の行使

当社が発行いたしました第45回新株予約権につき、2024年10月1日から2024年11月7日までに、以下のとおり行使されております。

行使新株予約権個数	185,000個 (発行総数の14.32%)
交付株式数	18,500,000株
行使価額総額	884,250千円
未行使新株予約権個数	1,107,000個
増加する発行済株式数	18,500,000株
資本金増加額 ※1、2	445,547千円
資本剰余金増加額 ※1、2	445,547千円

※1. 資本金増加額、資本剰余金増加額には新株予約権の振替額6,845千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権の行使による新株の発行の結果、2024年11月7日現在の発行済株式総数は275,377,550株、資本金は37,003,652千円、資本剰余金は5,349,860千円となっております。

なお、2024年10月1日から2024年11月7日までにストック・オプションの行使があり、発行済株式総数に8,000株が、資本金及び資本剰余金に3,100千円が、それぞれ含まれております。