



事業計画及び 成長可能性に関する事項の開示

アンジェス株式会社(4563)



2025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（2026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	37,255,887千円（2024年12月末日現在）
発行済株式数	286,377,550株（2024年12月末日現在）
従業員数	55名（2024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 1507, Jersey City, New Jersey, 07310 USA
EmendoBio Inc.	400 W 61st St, #2330 New York, NY USA

沿革

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	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	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

VISION & MISSION

Vision

**アンジェス株式会社は、
遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指します**

■ 企業理念

生命が長い時間をかけて獲得した遺伝子の力を借りて画期的な遺伝子医薬を開発・実用化し、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献します。

■ 経営理念

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遺伝子医薬の開発・実用化を通じて、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する。

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
(患者数200,000人未満)

EU



10,000人当たり
5人

日本



2,500人当たり
1人

シンガポール



100,000人当たり
約37人
(患者数：20,000人未満)

ロシア



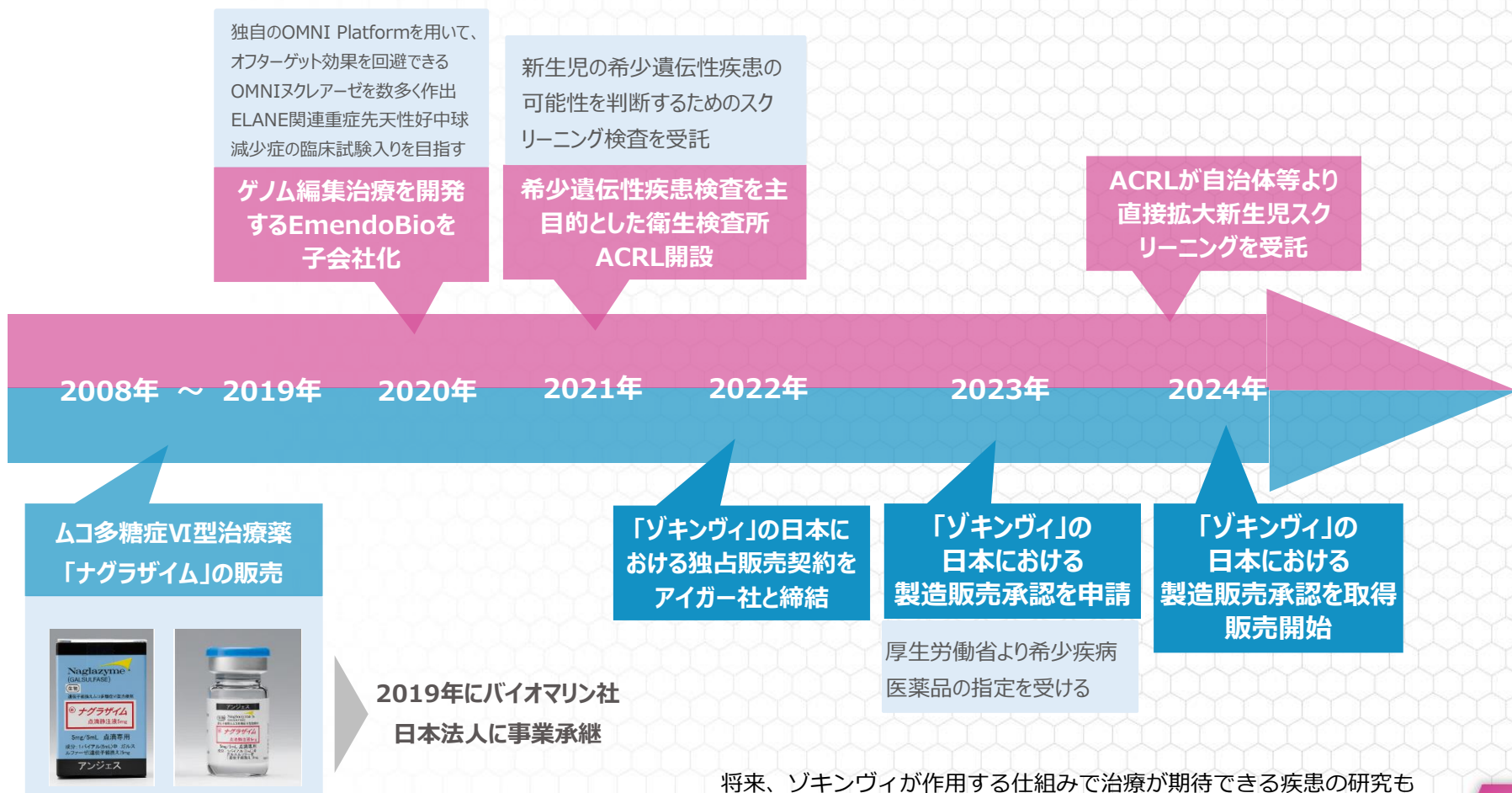
10,000人当たり
1人

オーストラリア



10,000人当たり
1人
(患者数：年間2,000人未満)

希少疾患への取り組み

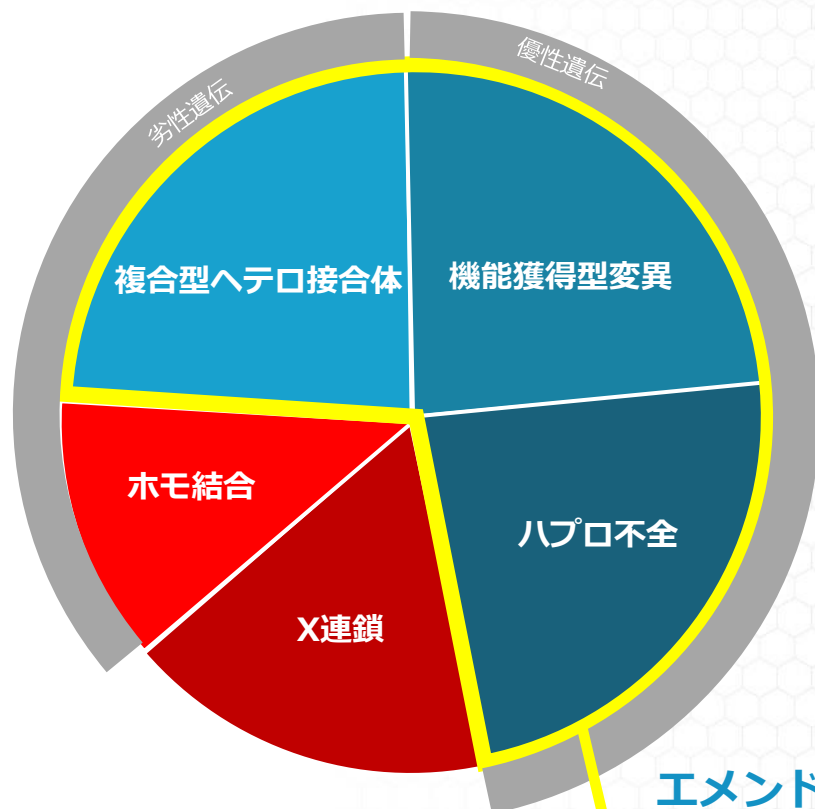


将来、ゾキンヴィが作用する仕組みで治療が期待できる疾患の研究も

希少疾患への取り組み

ゲノム編集の技術があれば、多くの遺伝子疾患に対するアプローチが可能となる

遺伝子疾患



希少疾患の患者数は
世界全体で**3億5,000万人**



希少疾患の原因の
80%は遺伝性



希少疾患の種類は
5,000～8,000種類

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

エメンド社の技術は、今まで治療できなかった遺伝病
までも治療できる可能性がある

ビジネスモデル

事業の内容

医薬品開発

難病・希少疾患や有効な治療法のない疾病を、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

Tie 2 受容体
アゴニスト

DNAワクチン

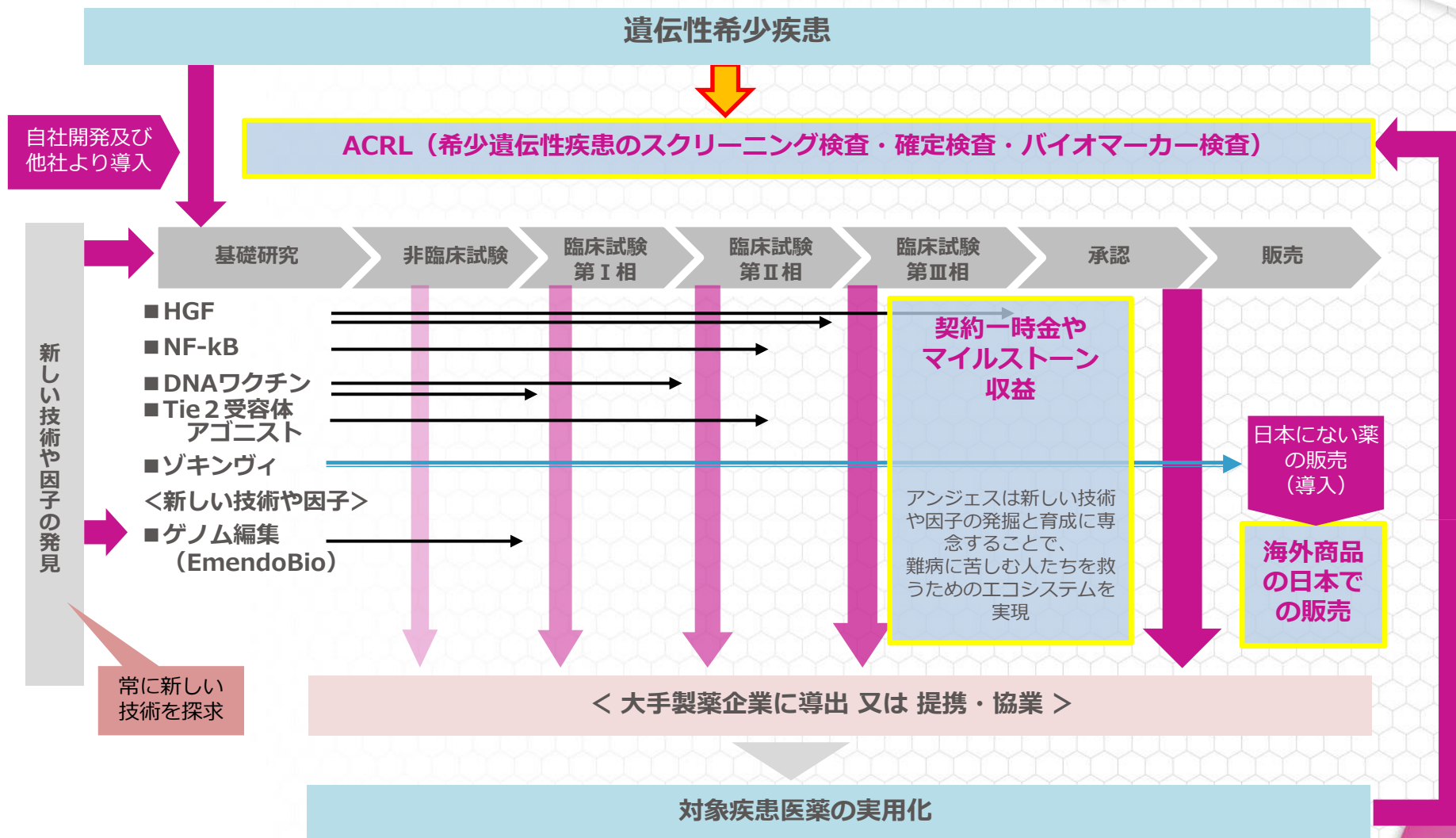
ゲノム編集

オフターゲット効果のほとんどない独自の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）			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						検討中	
	米国	—	注射剤	慢性動脈閉塞症				完了	良好な結果を確認 →FDAよりブレイクスルーセラピーに指定		
	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 潰瘍							
NF-kBデコイオリゴDNA	米国/日本	塩野義製薬	注射剤	腰痛症				実施中			
DNAワクチン	オーストラリア	—	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)	完了						
Tie2受容体アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群				前期 実施中			
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger (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→販売開始 (2024.5)	

*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PDPL」：プロセシング不全性のプロジェロイド・ラミパチー

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）
NF-κBデコイオリゴDNA	皮膚疾患全般	全世界	塩野義製薬（日本）

<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）

<グループ>

プロジェクト名	当社との関係	企業名
次世代ゲノム編集プラットフォーム技術	連結子会社	 エメンド（アメリカ）

<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）
ウイルス性及び細菌性の急性呼吸窮迫症候群（ARDS）	共同開発	 バソミュン（カナダ）
DNAワクチンその他	資本提携	 ブリッケル（アメリカ） Vicalと合併
ゲノム編集による新規がん治療法の開発	共同開発	スタンフォード大学（アメリカ）
マイクロRNA阻害剤の研究	オプション契約	ミラックスセラピューティクス（日本）
NF-κBデコイオリゴDNA（腰痛症）	開発協力	塩野義製薬（日本）

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）

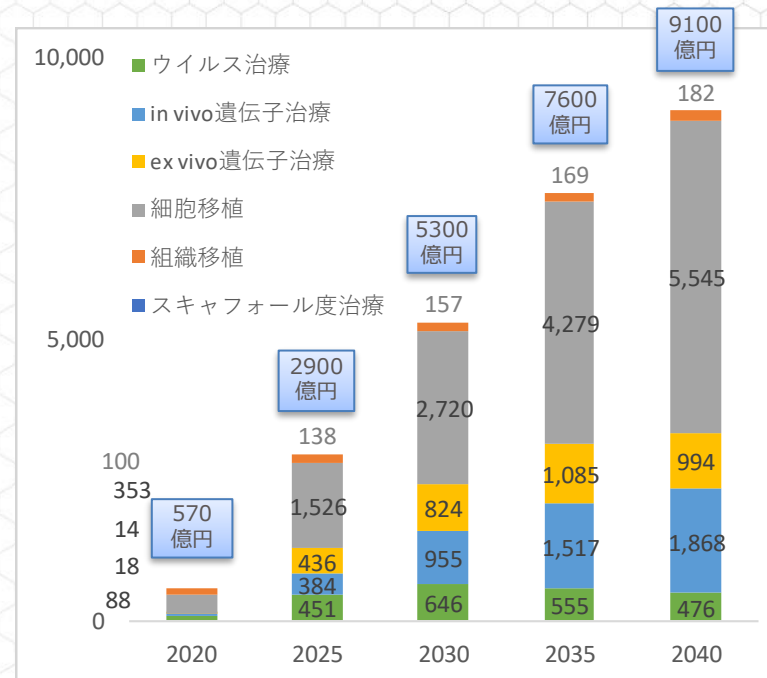
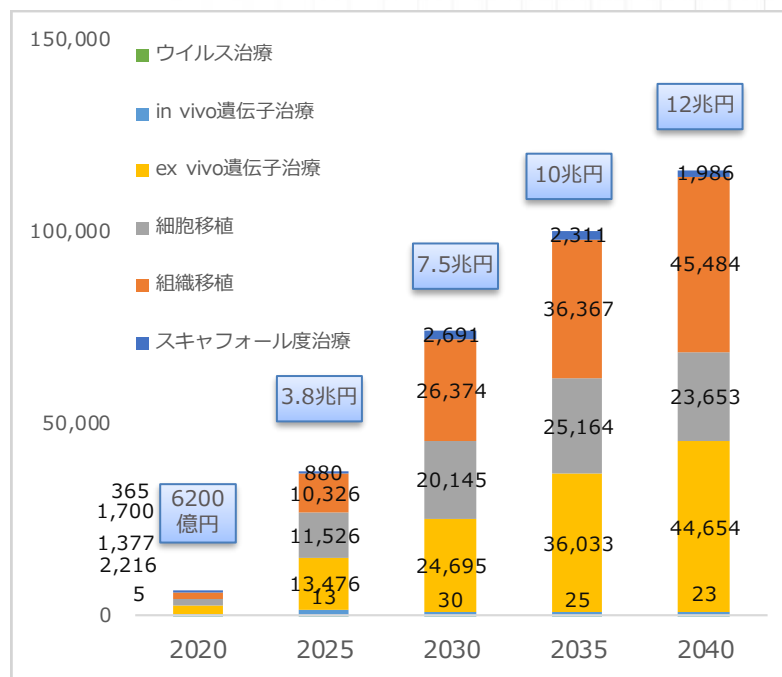
グローバルでの傾向と異なり、日本企業に関してはin vivo/ex vivo遺伝子治療の市場拡大は限定的で、売上の半分以上が細胞移植に偏ると推計。

グローバル市場規模推計

（作用機序別、億円）

全企業

日本企業*



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

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

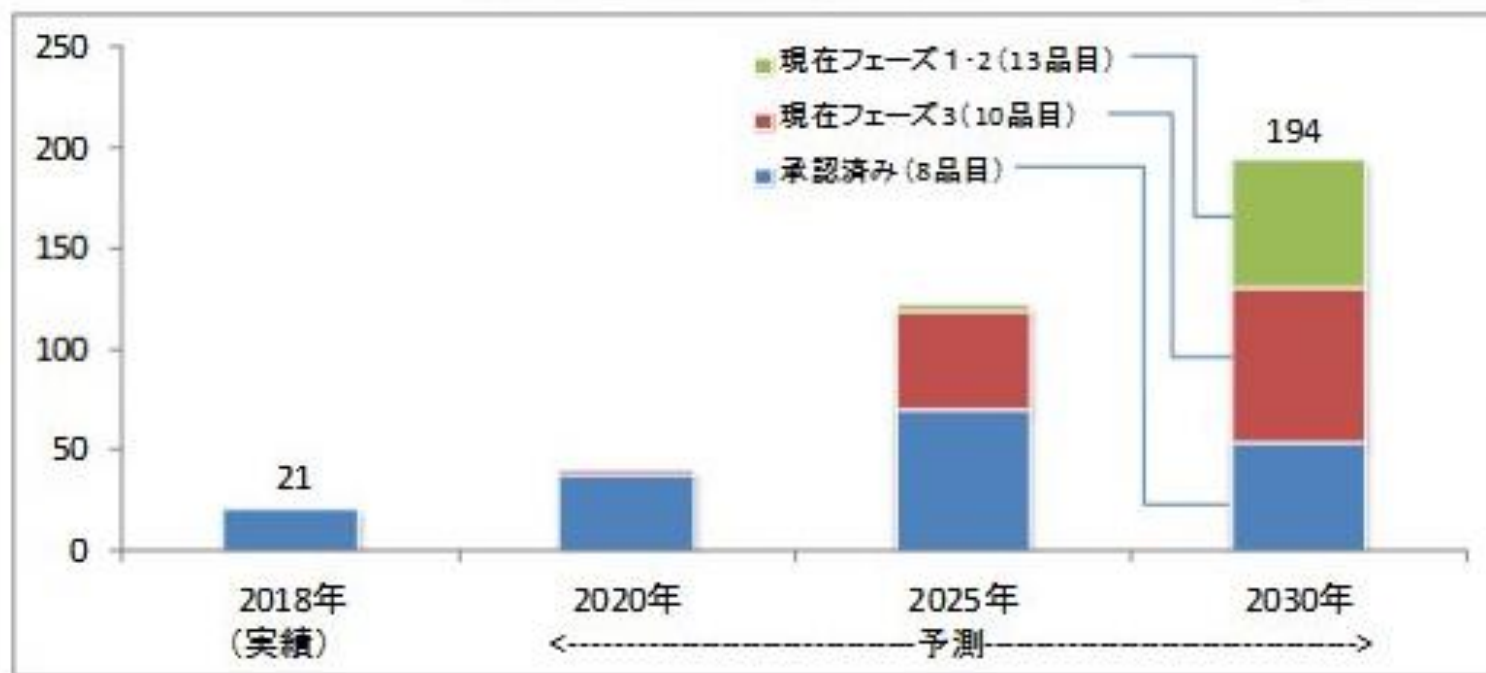
核酸医薬品の世界市場規模予測

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および承認申請中の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)

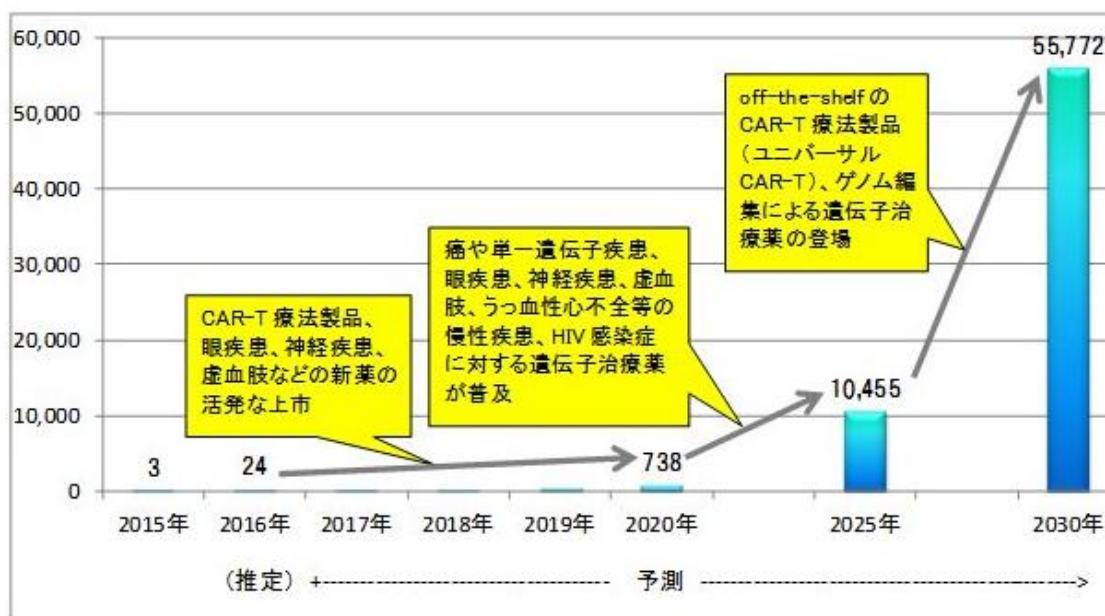
調査対象の核酸医薬品は、アンチセンス (ASO)、siRNA、ヘテロ2本鎖核酸 (HDO)、アプタマー、miRNA補充、その他 (デコイ核酸など)。

遺伝子治療薬の市場規模予測

日本と米国、欧州の3 地域における遺伝子治療薬の市場規模は、

- 2020 年に738 億円
- 2025 年に1 兆455 億円
- 2030 年に5.6 兆円に達すると予測

日本・米国・欧州 3 地域の遺伝子治療薬市場規模予測 (単位:億円)



(シード・プランニング作成)

日・米・欧3 地域における遺伝子治療薬の市場規模は2016 年時点で24 億円程度 (推定) と小さい。しかし、2017 年以降にCAR-T 療法製品をはじめとした新薬の活発な上市が予想され、2020 年の市場規模は738 億円に急拡大すると見込まれる。その後2025 年にかけては、癌や単一遺伝子疾患、眼疾患、神経疾患、虚血肢およびうっ血性心不全等の慢性疾患、HIV 感染症に対する遺伝子治療薬が普及して、市場規模は2025 年に1 兆円の台を越える見通し。2026 年以降も健康人ドナーの細胞から作製されるoff-the-shelfのCAR-T 療法製品 (ユニバーサルCAR-T) やゲノム編集を基本コンセプトとした遺伝子治療薬の登場によって、市場の更なる成長が期待され、2030 年の市場規模は5.6 兆円に達すると予想される。

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

“血管を新生する遺伝子治療薬”

HGF遺伝子治療用製品

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(きよけつせい しっかん)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。

<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
本承認の申請を取り下げ※
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

※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

2014年

2019年

2023年

2024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

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**

優れた臨床試験結果を実現

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



米国後期第Ⅱ相臨床試験の良好な結果から

2024年9月

FDAによるブレイクスルーセラピー
(画期的新薬)の指定

「審査期間の短縮」と
「承認確度の向上」が
期待できる

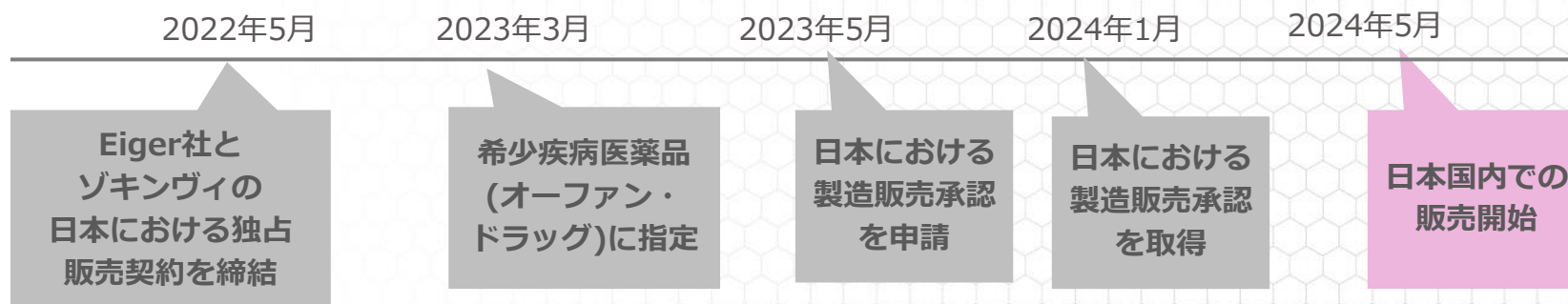
2024年11月

米国心臓学会(AHA)の
学術セッションにおいて
臨床試験結果を発表

循環器医療の領域において
世界的にも有名で権威ある学会で
臨床的な重要性が認められました

早老症治療薬「ゾキンヴィ」

2024年5月 早老症治療薬「ゾキンヴィ」の販売開始



※オーファン・ドラッグとは
患者数が少なく、治療法が確立していない難病に対する
希少疾病（きしょうしつぺい）用医薬品のこと
1993年の薬事法の改正によって、オーファン・ドラッグ
に対する本格的な公的研究開発援助制度がスタート

対象疾患	ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）／プロジェロイド・ラミノパチー（PL）（早老症）
状況	国内承認に向けた関係機関との打ち合わせなど

2024年1月：「ゾキンヴィ」の日本における製造販売承認を取得

2023年5月：日本における製造販売承認を申請

2023年3月：厚生労働省よりオーファンドラッグに指定

2022年5月：米国の医薬品企業 Eiger BioPharmaceuticals Inc.との希少疾患治療薬Zokinvyに関する
日本における販売契約締結

「ゾキンヴィ」がドラッグロス/ラグ解消の契機に

今回「ゾキンヴィ」の導入成功が、今後の日本におけるドラッグロス、ドラッグラグ解消に向けたきっかけになることを期待するとのコメントがあり、報道番組等で紹介されました

「ゾキンヴィ」の発売に合わせて、6月18日に報道関係者を対象とした説明会を実施

大分大学医学部教授・井原健二先生と佐賀大学医学部教授・松尾宗明先生から
「ゾキンヴィ」の対象疾患であるHGPS及びPDPLについて
疾患の特長やその治療に関する説明をしていただきました



詳細は、HPのNewsより([こちらから](#))ご覧いただけます

NF- κ BデコイオリゴDNA 開発状況

NF-κB(エヌ・エフ・カッパ・ビー)デコイオリゴDNAとは

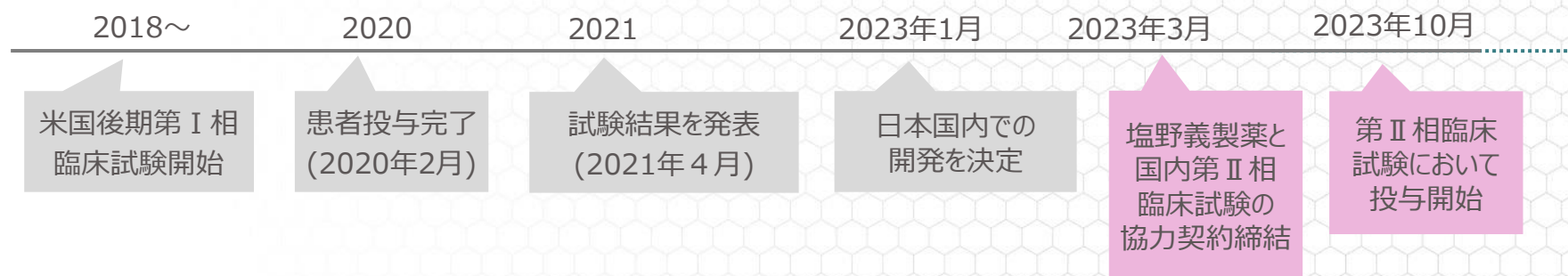
NF-κBは炎症や免疫が活性化する際、
活性酸素による酸化ストレスなどの刺激が外部から与えられた時に、
細胞が炎症反応や免疫反応を引き起こすために活性化する主要な転写因子です。

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ことが指摘されています。

「おとり」として「NF-κBデコイ」を体内に多数入れることによって
「NF-κB」と炎症を引き起こす遺伝子の転写調節配列との結合が妨げられます。

当社は、椎間板性腰痛症を含む腰痛疾患の治療薬として、
2018年から開発を行っています

日本国内で第Ⅱ相臨床試験の投与継続中



**予定に沿って第Ⅱ相臨床試験の症例登録を推進
2025年度中の登録完了を目指す**

対象疾患	椎間板性腰痛症
患者数	167万人（日本）（出典：IQVIA調査資料）
開発状況	米国で後期第Ⅰ相臨床試験の試験結果を公表（安全性・有効性を確認）。 日本国内での第Ⅱ相臨床試験を決定（2023年1月） 塩野義製薬と国内第Ⅱ相臨床試験への協力に関する契約締結（2023年3月） 国内における第Ⅱ相臨床試験で投与開始（2023年10月）

DNAワクチン開発状況

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

Tie2受容体アゴニスト

米国において第Ⅱ相臨床試験を実施中

新型コロナウイルス、インフルエンザ等のウイルス性肺炎及び細菌性肺炎を含む
急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を対象に第二相臨床試験を実施中

米国で実施中の第Ⅱ相臨床試験において、独立データ安全性モニタリング委員会（Independent Data and Safety Monitoring Board、略称：IDSMB）から**安全性について肯定的評価**を受けました

米国における臨床試験においては、臨床試験実施主体から独立した第三者機関である IDSMB が臨床試験の安全な実施をモニタリングする仕組みがあり、IDSMB は臨床試験の実施過程において、必要に応じて安全性に関する評価を実施します

第Ⅱ相臨床試験の目標症例登録に向け臨床試験を実施する医療機関を追加
当社の臨床試験に関する知見に基づく医療機関との連携を強化
臨床開発を加速

米国におけるインフルエンザ流行が例年よりも遅かったことなどから
2025年後半の登録完了を目指す

Tie2 受容体アゴニスト「AV-001」は
カナダのバイオ医薬品企業 Vasomune Therapeutics, Inc.と共同開発しています

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所

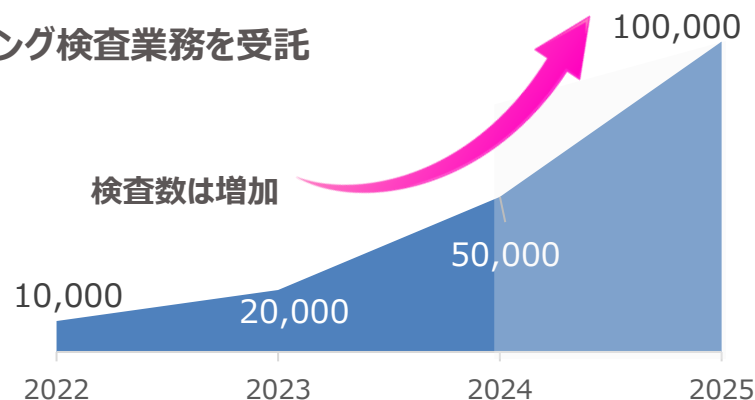
アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

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

検査機器の増設・検査員の増員等により
年間検査処理件数の増加に対応できる体制を構築



→ 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公費負担で実施
- ・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）

ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の特徴

9疾患のスクリーニング検査を柔軟に対応

国内では**最多の検査項目数**となる**9疾患***のスクリーニング検査が実施可能
またその強みを生かし、**ご要望やニーズに沿って検査パッケージをご提案**

※下表はACRLが自治体の要望に合わせて検査を受託できるイメージ

自治体	検査項目数	Gaucher	NPA/B	Krabbe	MPSI	MPSII	MPSIVA	MPSVI	MPSVII	Fabry	Pompe	ALD	SMA	PID/SCID	ADA-SCID
自治体①	9	—	—	—	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—
自治体②	7	—	—	—	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—	ACRL	ACRL	ACRL	検査所 A	検査所 A	—
自治体③	14	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL

検査項目を特定のパッケージで委託している自治体がありますが、ACRLでは、

- ・**9つの疾患全てのスクリーニング検査**の受託をする
- ・**一部の疾患の検査のみ**を受託する

など、要望に応じて、**臨機応変な対応が可能です**

* 2025年4月より「アデノシンデアミナーゼ欠損症」などが対象疾患に加わり**14疾患の検査が可能**となります

希少遺伝性疾患検査の全体像

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）では
拡大新生児スクリーニングと遺伝学的検査を実施しています。

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 (確定診断)

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

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

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）

2024年度より
埼玉県、群馬県、沖縄
県などの自治体から
受託を開始

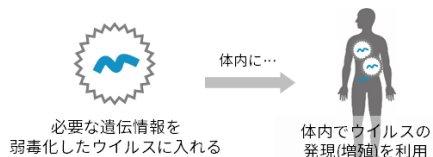
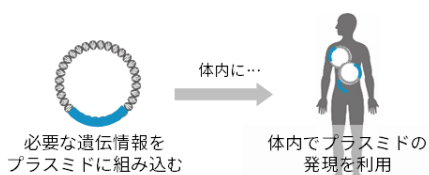
※スクリーニングとは：

第一段階として、大勢の中から疑わしい人をピックアップするため、ふるい分けを行う検査。スクリーニング検査には通常、見逃しが無いよう感度の高い検査法が用いられる。

ゲノム編集 EmendoBio

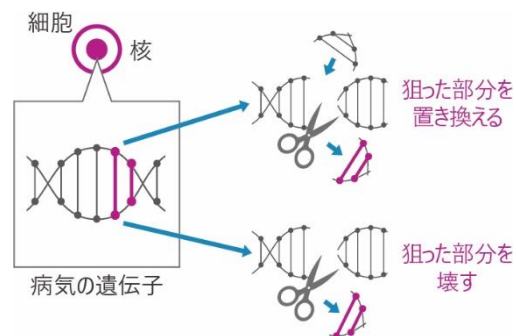
遺伝子治療の次のステージ

プラスミドDNA



ウイルスベクター

ゲノム編集



ゲノム編集は究極の遺伝子治療

ゲノム編集とは

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、思い通りに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。



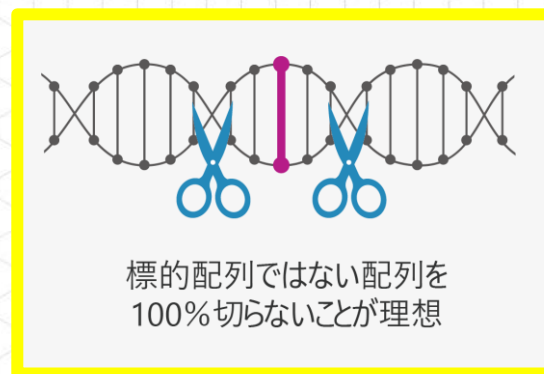
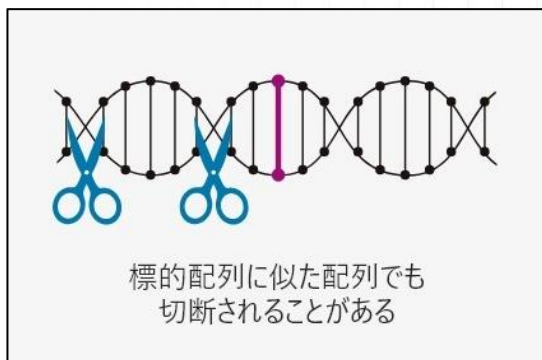
③誘導された場所の
特定の場所を切り取る。

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

オフターゲット効果の回避を目指して



オフターゲット効果を回避することが重要

オフターゲット効果低減のために、

- ゲノム内に標的配列に類似した配列がないか検索
- 類似配列が存在する標的は避け、別の標的配列を探す



これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう
“オフターゲット効果”が懸念されていましたが、
Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果を回避した
安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

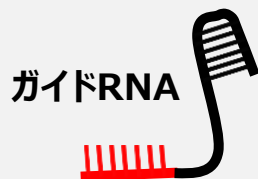
独自のヌクレアーゼを確立

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



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）



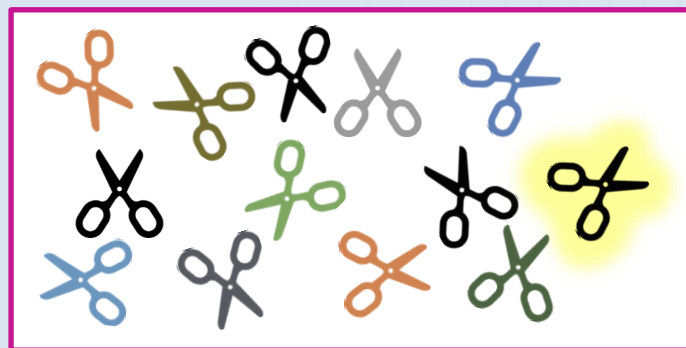
独自の探索技術（開発プラットフォーム）を確立

オフターゲット効果の回避が可能に

独自プラットフォームの開発

OMNIヌクレアーゼを数多く作出

疾患に合わせた治療戦略の構築



適切なヌクレアーゼを選択



標的配列に対して
さらに最適化



オフターゲット効果の回避、
アレル特異的遺伝子の編集が
可能となるよう、
さらに精度を上げる

OMNI Platformの確立

Emendo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

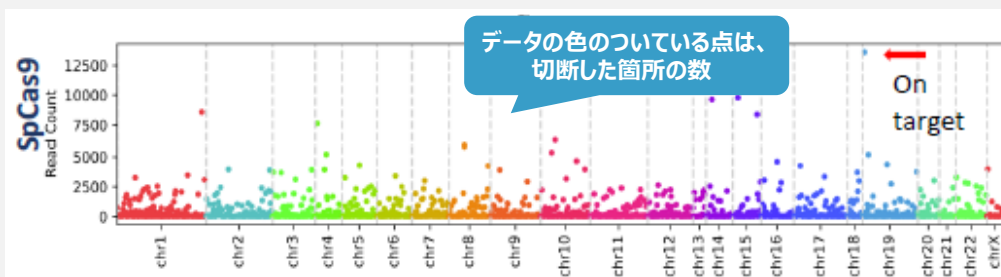
新たなヌクレアーゼの探索とその最適化技術によって、安全で有効な治療の開発を進めています

OMNIヌクレアーゼの高精度ゲノム編集

CRISPR/Cas9

(2020年にノーベル化学賞を受賞)

オンターゲットサイト以外にも、
かなりの数の**オフターゲット**サイトが
かなり**頻度高く**見られる



■ EmendoBio社のゲノム編集技術

野生型のOMNI-A1 (最適化前)

オフターゲットサイトはかなり少ないが、
オンターゲット以外の切断点も散見される



最適化 (アレル特異的遺伝子編集のさらなる最適化をAIで行う)

OMNI-A1-V10 (最適化後)

オンターゲット(疾患の原因となる箇所)以外は、
ほとんど切断が起こらない
⇒切るべき箇所以外の所は、余計には切っていない

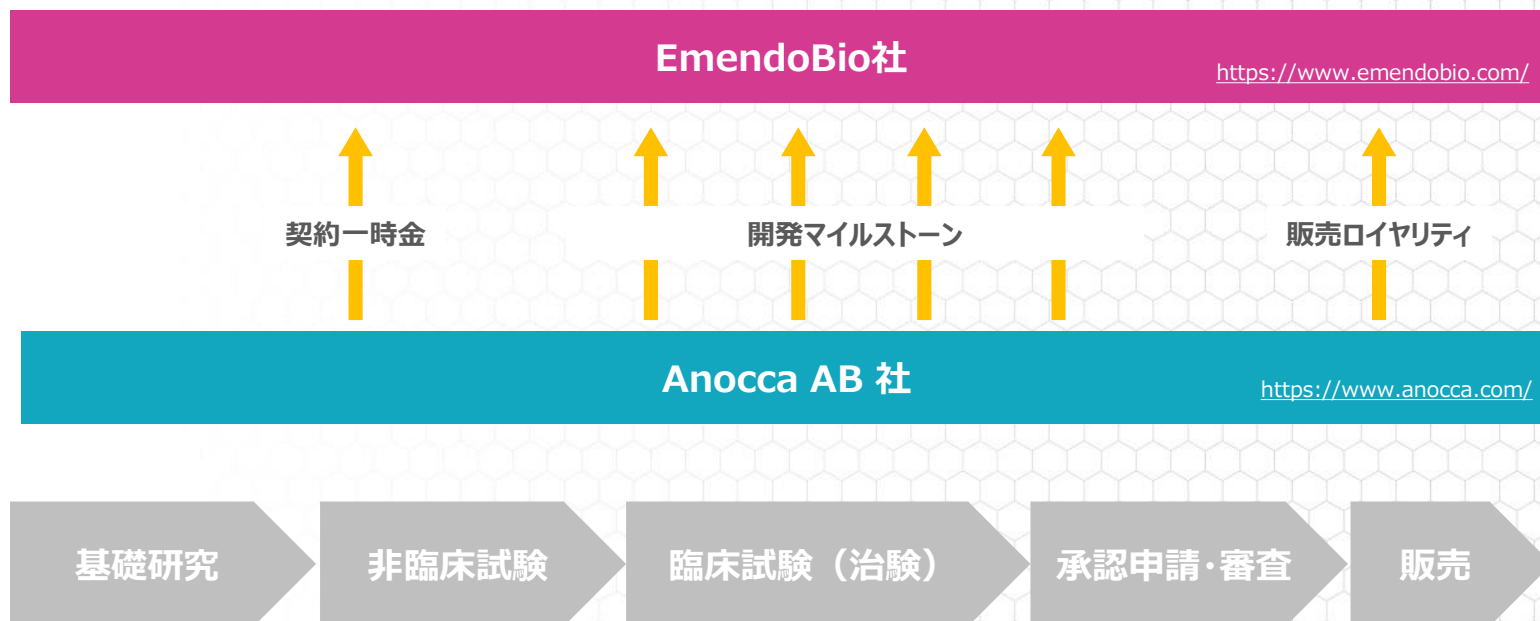


Emendo社独自のOMNIヌクレアーゼの特長を生かしたライセンスビジネス

オフターゲット効果の少ないEmendo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

EmendoBio社がスウェーデンのAnocca AB社とライセンス契約

(Emendo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

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

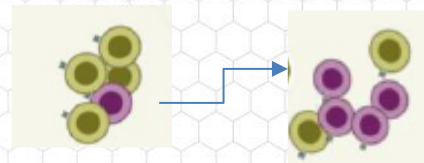


emendo^{bio}



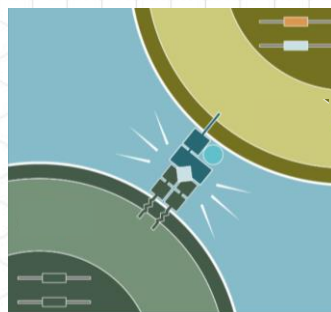
Anocca AB

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

スタンフォード大学との共同研究

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

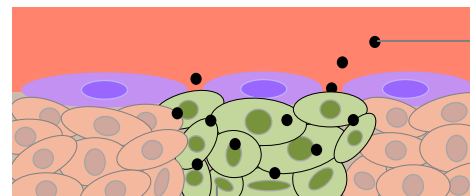


emendo^{bio}



Stanford University

がん組織特異的に薬剤を
送り込む技術



薬剤

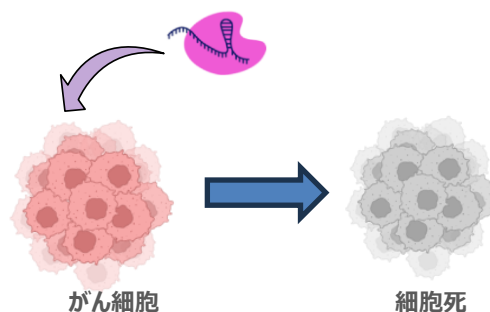
がん細胞



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



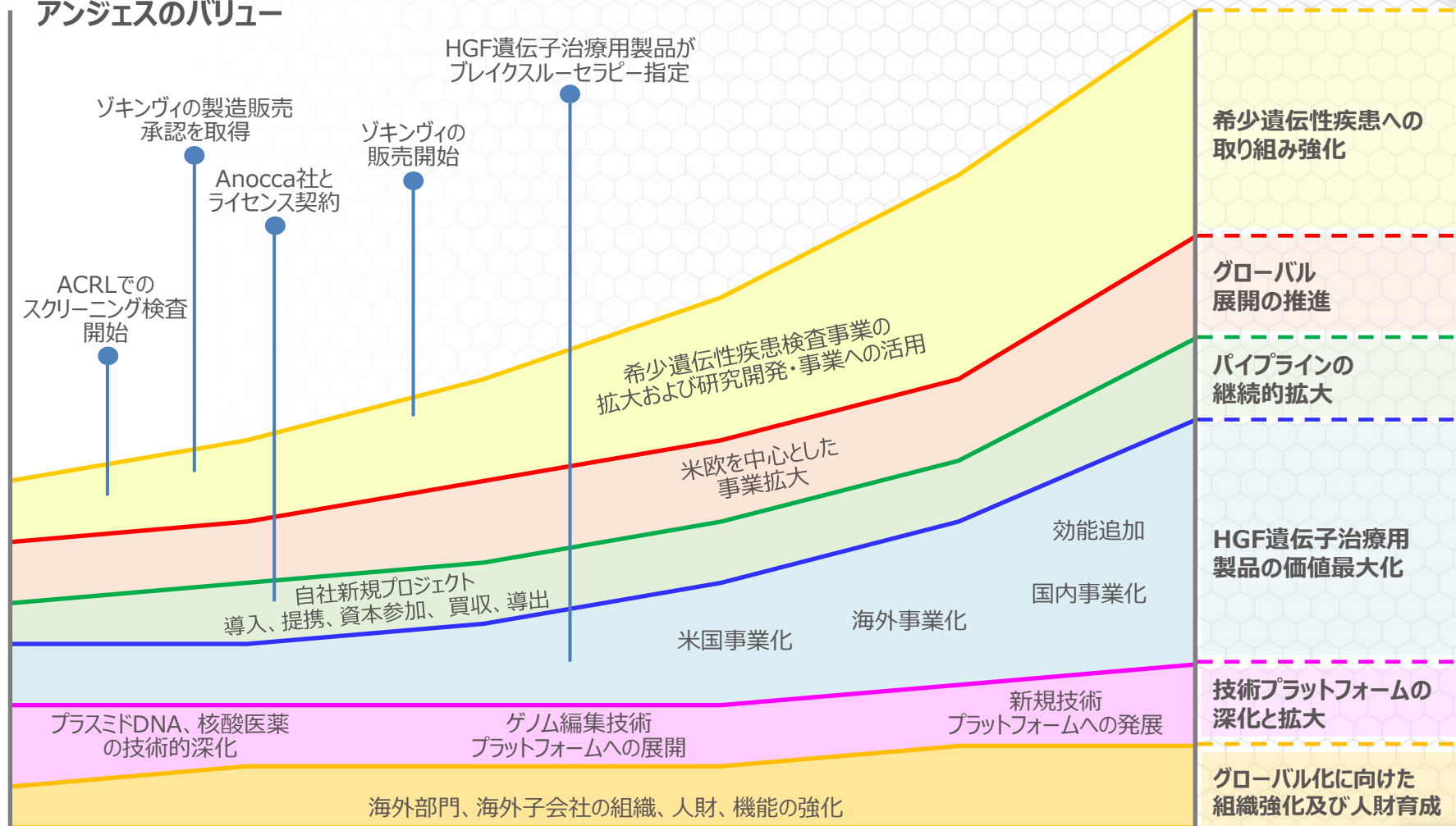
がん細胞

細胞死

事業計画

成長戦略

アンジェスのバリュー



2022年

2030年

成長戦略：プロジェクトの推進及び製品化

～2018年

2024年

2030年

2024年
早老症治療薬「ゾキンヴィ」
の販売開始

新規プロジェクト・製品

2022年～ ゾキンヴィ（早老症）

製品化（販売）

2020年～ ゲノム編集プラットフォーム技術取得

2018年～ Tie2受容体アゴニスト ※AV-001（新型コロナウイルス感染症及び急性呼吸窮迫症候群）

2015年～ DNAワクチン（高血圧）

2010年～ NF-kBデコイオリゴDNA（腰痛症）

1999年～ HGF遺伝子治療用製品（慢性動脈閉塞症）

製品化（販売）

成長戦略：ACRLによる検査体制の整備

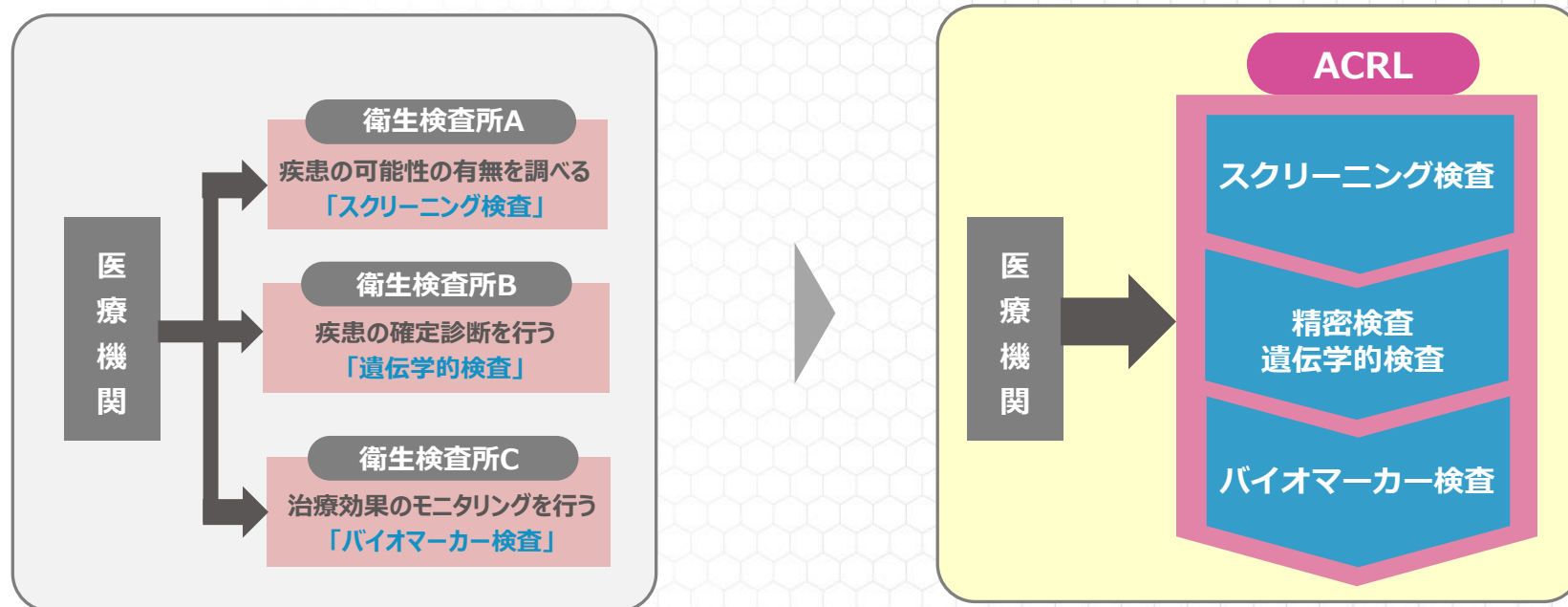
国内で唯一、希少遺伝性疾患検査におけるワンストップ検査を可能に

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：2024年度 連結業績ハイライト

(単位：百万円)

	2023年12月	2024年12月	増減	2024年12月 見通し	2024年12月 実績	増減
事業収益	152	643	490	600	643	43
事業費用	12,120	9,753	△2,367			
営業損益	△11,967	△9,109	2,858	△8,450	△9,109	△659
営業外収支	6,316	1,571	△4,744			
経常損益	△5,651	△7,537	△1,886	△8,450	△7,537	912
特別損益	△1,820	△20,105	△18,285			
当期純損益	△7,437	△28,128	△20,691	△8,650	△28,128	△19,478

- ・当期の事業収益の増加は、ゾキンヴィの販売開始並びに検査受託サービスの受託数の順調な増加による
- ・前年度の補助金収入が無くなり経常損益は前年比マイナス、為替の円安により計画比プラス
- ・のれんの減損処理等による特別損失により当期純損益は大幅な損失を計上

特別損失の計上

2020年12月

2020年12月 ゲノム編集技術で独自技術を有する
EmendoBioを子会社化



固定資産として「のれん」を約227億円計上

2025年2月

事業再編による新体制の発足から今後の活動に合わせ
有形固定資産とのれんを減損
特別損失として201億円を計上

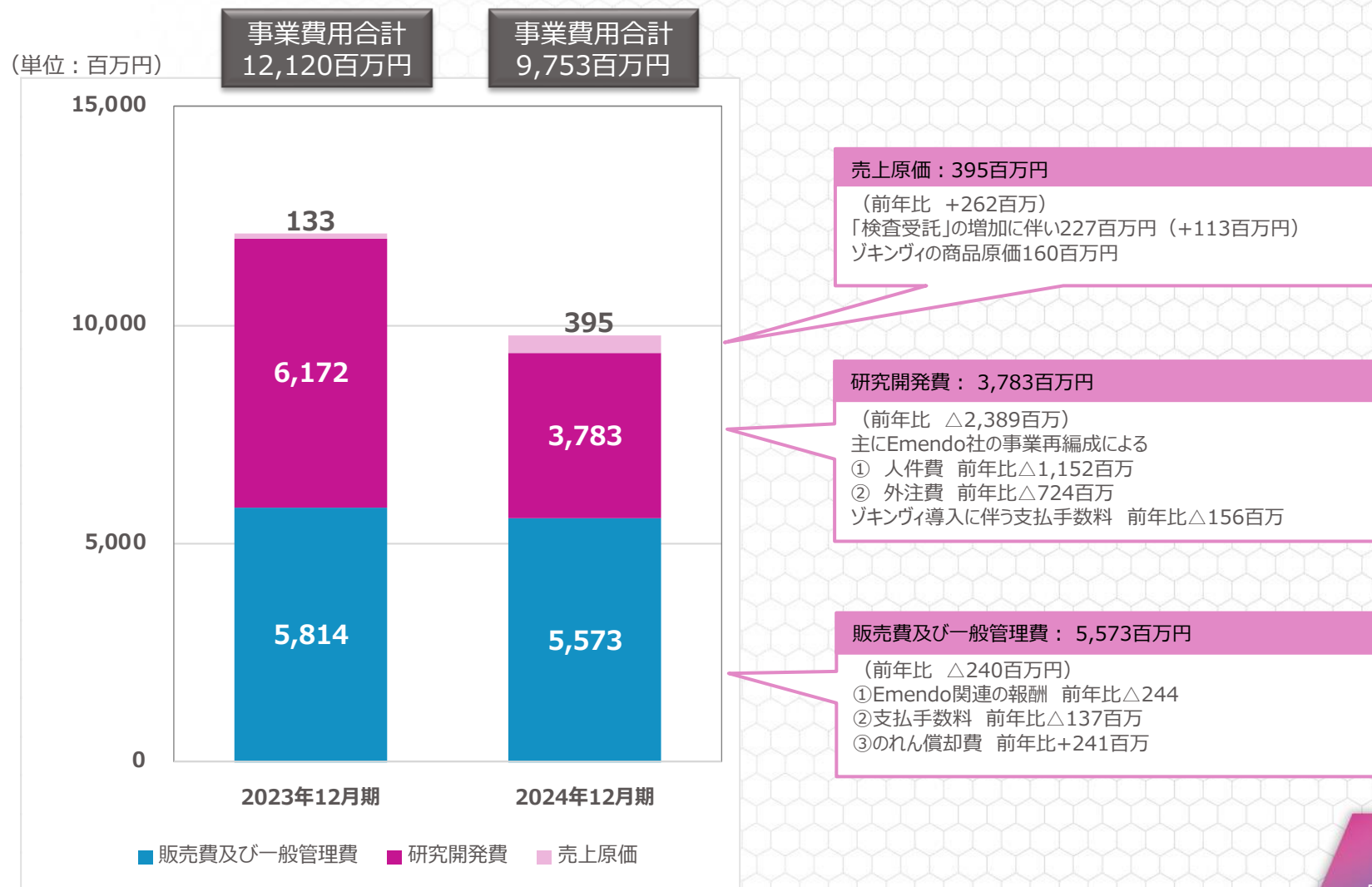
今後

米国でのライセンス活動の強化
スタンフォード大学との共同研究



業績改善のペースを加速

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)

	2023年12月末	2024年12月末	増減
流動資産	5,921	3,542	△2,378
うち現金及び預金	4,160	1,707	△2,452
固定資産	22,971	1,125	△21,845
うち「のれん」	21,746	0	△21,746
総資産	28,892	4,668	△24,223
負債	2,789	2,512	△277
純資産	26,103	2,156	△23,946

流動資産

- 現預金 1,707百万円 (前年度末比△2,452百万円)
資金調達4,425百万円はあるも、事業支出に伴い前年比減少
- 商品 224百万円 ゴキンヴィの販売に伴い
- 原材料及び貯蔵品
評価損の計上により前期末比△264百万円

固定資産

- のれん残高 0円(前年比△21,746百万円)
20,788百万円減損
- 有形固定資産 174百万円 (前年比△248百万円)
使用権資産を減損

負債

- 買掛金 前年度末比△118百万
- 未払金 前年度末比△167百万円
- 事業構造改革引当金 前年度末比△391百万円
- 未払法人税 前年度末比+578百万円

純資産

- 資本金/資本剰余金+4,279百万円
- 当期損失による利益剰余金 △28,128百万円
為替換算調整 前年度末比△130百万円

利益計画：2025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
2025年度 通期 計画	1,350	△5,800	△5,820	△5,850
2024年度 通期 実績	643	△9,109	△7,537	△28,128
増減	707	3,309	1,717	22,278

2025年度 通期業績見通しのポイント

- ・ ゾキンヴィの販売を年間をととして計画
- ・ ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数が順調に増加
- ・ Emendo社の事業再構築に伴う費用（のれんの償却を含む）の削減
- ・ 2024年度に計上した特別損失が無くなる

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	374	→	→		
新規製品・プロジェクトの獲得資金	171	62	→	→	→	→
VasomuneとARDS治療薬の共同研究費	556	105	→	→	→	→
運転資金	458	119	→	→	→	→
その他の手段による事業基盤拡大	1,544	1,544	→	→		
合計	17,376	16,477				

※充当金額は2024年8月30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2024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2024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、17億59百万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
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) 377	377		
早老症治療剤「ソキンヴィ」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-κB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	1,030	1,030		
合計	1,759	1,759		

※充当金額は2024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、2024年12月31日までにその一部が行使され、14億32百万円を調達いたしました。予定調達額は約82億円で、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 (百万円)	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	3,878	320	→		
早老症治療剤「ソキンヴィ」の上市後の製造販売費用	807	72	→		
慢性椎間板性腰痛症治療用NF-κBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用	900	90	→		
検査事業受注拡大のための資金	590	101	→		
運転資金	2,093	711	→		
合計	8,268	1,294			

※充当金額は2024年12月31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
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。	中	中長期	大	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。 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。 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。
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- κ B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。 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。	中	中長期	大	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。 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。 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。

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
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。	中	中期	中	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。 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。 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に取り組んでまいります。

※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

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して

