



2024年2月22日

各 位

会 社 名 アンジェス株式会社
代表者名 代表取締役社長 山田 英
(コード番号 4563 東証グロース)
問合せ先 経 理 部 長 櫻井 純

2023年12月期決算短信〔日本基準〕(連結)の一部訂正について

当社は、2024年2月9日に開示いたしました「2023年12月期決算短信〔日本基準〕(連結)」について一部訂正がありましたのでお知らせいたします。また、数値データにも訂正がありましたので訂正後の数値データもお知らせいたします。

記

1. 訂正の理由

2023年12月期決算短信発表後の会社法計算書類の作成過程におきまして、当社の連結子会社である EmendoBio Inc. の研究開発部門再編に伴う事業構造改革費用の見積もりが増加し、当社の連結財務諸表の一部訂正が生じたので、提出済の決算短信を訂正させていただくものであります。

2. 訂正の内容

2024年2月9日に開示いたしました2023年12月期決算短信〔日本基準〕(連結)に記載いたしました(2)連結損益計算書及び連結包括利益計算書の中で、特別損失「事業構造改革費用」503,623千円を904,955千円に訂正させていただきます。これに伴い他の財務数値も訂正させていただきます。

訂正箇所には____線を付して表示しております。

なお、訂正箇所が多数に及ぶことから、訂正後のみ全文を記載しております。

また、2024年2月9日に開示いたしました「営業外収益、営業外費用、特別損失及び法人税等調整額の計上に関するお知らせ」に記載いたしました「事業構造改革費用」につきましても同様の訂正が生じます。

以 上



2023年12月期 決算短信〔日本基準〕(連結)

2024年2月22日

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所 東
 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) 櫻井 純 (TEL) —
 定時株主総会開催予定日 2024年3月28日 配当支払開始予定日 —
 有価証券報告書提出予定日 2024年3月29日
 決算補足説明資料作成の有無 : 有
 決算説明会開催の有無 : 有 (機関投資家・アナリスト 向け)

(百万円未満切捨て)

1. 2023年12月期の連結業績(2023年1月1日~2023年12月31日)

(1) 連結経営成績

(%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	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2023年12月期	152	128.1	△11,967	—	△5,651	—	△7,437	—
2022年12月期	67	4.5	△16,316	—	△14,610	—	△14,714	—

(注) 包括利益 2023年12月期 △6,382百万円(—%) 2022年12月期 △11,794百万円(—%)

	1株当たり当期純利益	潜在株式調整後1株当たり当期純利益	自己資本当期純利益率	総資産経常利益率	売上高営業利益率
	円 銭	円 銭	%	%	%
2023年12月期	△39.29	—	△26.4	△16.7	△7,822.6
2022年12月期	△94.29	—	△42.7	△34.7	△24,331.2

(参考) 持分法投資損益 2023年12月期 一百万円 2022年12月期 一百万円

(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。

(2) 連結財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	百万円	%	円 銭
2023年12月期	28,892	26,103	90.0	131.04
2022年12月期	38,820	30,425	78.1	169.77

(参考) 自己資本 2023年12月期 26,007百万円 2022年12月期 30,324百万円

(3) 連結キャッシュ・フローの状況

	営業活動によるキャッシュ・フロー	投資活動によるキャッシュ・フロー	財務活動によるキャッシュ・フロー	現金及び現金同等物期末残高
	百万円	百万円	百万円	百万円
2023年12月期	△8,745	△356	2,036	4,092
2022年12月期	△11,214	△97	3,572	10,969

2. 配当の状況

	年間配当金					配当金総額(合計)	配当性向(連結)	純資産配当率(連結)
	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	百万円	%	%
2022年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
2023年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
2024年12月期(予想)	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—

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	%		
通期	530	246.4	△8,500	—	△8,500	—	△8,700	—

(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) 期中における重要な子会社の異動（連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動）： 無
 新規 一社（社名）— 、除外 一社（社名）

(2) 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 : 有
 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

(3) 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）	2023年12月期	198,470,300株	2022年12月期	178,623,900株
② 期末自己株式数	2023年12月期	92株	2022年12月期	92株
③ 期中平均株式数	2023年12月期	189,276,690株	2022年12月期	156,052,874株

(参考) 個別業績の概要

1. 2023年12月期の個別業績（2023年1月1日～2023年12月31日）

(1) 個別経営成績 (%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2023年12月期	138	107.2	△4,801	—	1,989	—	1,067	—
2022年12月期	67	4.5	△9,691	—	△8,001	—	△8,115	—
	1株当たり 当期純利益		潜在株式調整後 1株当たり当期純利益					
	円 銭		円 銭					
2023年12月期	5.64		5.49					
2022年12月期	△52.00		—					

(注) 当社では、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) 個別財政状態

	総資産		純資産		自己資本比率		1株当たり純資産	
	百万円		百万円		%	円 銭		
2023年12月期	38,691		37,266		96.1	187.33		
2022年12月期	40,718		34,141		83.6	190.57		

(参考) 自己資本 2023年12月期 37,179百万円 2022年12月期 34,040百万円

※ 決算短信は公認会計士又は監査法人の監査の対象外です。

※ 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、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.7「1. 経営成績等の概況 (5) 今後の見通し」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 経営成績等の概況	2
(1) 当期の経営成績の概況	2
(2) 当期の財政状態の概況	3
(3) 研究開発の概況	3
(4) 当期のキャッシュ・フローの概況	7
(5) 今後の見通し	7
(6) 継続企業の前提に関する重要事象等	7
2. 会計基準の選択に関する基本的な考え方	9
3. 連結財務諸表及び主な注記	10
(1) 連結貸借対照表	10
(2) 連結損益計算書及び連結包括利益計算書	12
連結損益計算書	12
連結包括利益計算書	13
(3) 連結株主資本等変動計算書	14
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書	16
(5) 連結財務諸表に関する注記事項	18
(継続企業の前提に関する注記)	18
(連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項)	19
(重要な会計上の見積り)	21
(会計方針の変更)	21
(連結貸借対照表関係)	21
(連結損益計算書関係)	22
(連結包括利益計算書関係)	24
(連結株主資本等変動計算書関係)	24
(連結キャッシュ・フロー計算書関係)	26
(セグメント情報等)	26
(1株当たり情報)	28
(重要な後発事象)	29

1. 経営成績等の概況

(1) 当期の経営成績の概況

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。

当連結会計年度の事業収益は前年同期に比べ85百万円増加し1億52百万円(前年同期比128.1%増)となりました。当社グループでは、HGF遺伝子治療用製品コラテジェンの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。)より販売しております。2023年5月31日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。当連結会計年度においては、これまで同様、複数診療科で重症下肢虚血の治療を行っている専門医のいる病院のみでの使用となっていることから、製品売上高は23百万円(同11百万円の増加)となっております。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である「オプションスクリーニング」を受託しており、前年同期に比べ受託数が順調に増加していることから手数料収入として1億15百万円(同60百万円の増加)を計上いたしました。ACRLでは、2023年7月には拡大新生児スクリーニングの問い合わせ窓口を開設し、2024年度から各地の自治体や関係機関からの新たな受託を目指しております。また、Emendobio, Inc.(以下、「Emendo社」といいます。)においてOMNI Platform技術に関する売上14百万円を研究開発事業収益として計上しております。

当連結会計年度における事業費用は、前年同期に比べ42億63百万円減少し、121億20百万円(同26.0%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ39百万円増加し、1億33百万円(同42.2%増)となりました。当連結会計年度におけるコラテジェンの製品売上原価は前年同期より6百万円減少し、19百万円となりました。コラテジェンの製品売上高は増加いたしました。前年同期に使用期限切れによる廃棄が見込まれる製品の評価損を計上しております。当期において、製品評価損が減少したことにより、製品売上原価が減少しております。ACRLにおけるオプションスクリーニングにかかる原価は、新規検査機器購入による減価償却額等の計上により前年同期に比べ45百万円増加し、1億14百万円(同67.2%増)となっております。

研究開発費は、前年同期に比べ48億26百万円減少し、61億72百万円(同43.9%減)となりました。2020年度から開始したプラスミドDNAの技術を用いた新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの開発を中止したことにより、研究用材料費が12億28百万円、外注費が39億10百万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) 研究開発の概況」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5億23百万円増加し、58億14百万円(同9.9%増)となりました。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1億97百万円増加しております。Emendo社の事業再編に伴う弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬が増加したため、支払手数料が前年同期より3億58百万円増加しております。

この結果、当連結会計年度の営業損失は119億67百万円(前年同期の営業損失は163億16百万円)となりました。

営業外損益は、外貨預金及び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7億45百万円発生しております(前年同期は13億22百万円の為替差益)。補助金収入は55億51百万円となりました(前年同期の補助金収入は3億93百万円)。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。)より採択された「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」に関する助成金及び厚生労働省より採択された「ワクチン生産体制等緊急整備事業」に関する助成金について、すでに入金され前受金に計上してはいたしましたが、当連結会計年度において確定したことから、54億2百万円を補助金収入に計上しております(前年同期は1億18百万円)。Vasomune Therapeutics, Inc.(以下「Vasomune社」といいます。)が米国及びカナダ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1億48百万円を受領し、補助金収入に計上しております(前年同期は2億75百万円)。

この結果、当連結会計年度の経常損失は56億51百万円(前年同期の経常損失は146億10百万円)となりました。

当連結会計年度の親会社株主に帰属する当期純損失は74億37百万円(前年同期の親会社株主に帰属する当期純損失

は147億14百万円)となりました。投資有価証券評価損を8億51百万円計上しております。2024年1月29日に公表いたしました通り、MyBiotics Pharma, Ltd. (以下、「MyBiotics社」といいます。)の株式及び転換社債について、今後の事業の見通し等を検討した結果、実質価値が下落し、回復が認められないと判断し、評価損を8億49百万円計上しております。Emendo社においては、同社の研究開発部門の再編成に伴い、事業構造改革費用9億4百万円を計上しております。主にAnGes USAにおける米国の研究開発税制に伴う繰延税金資産の増加により、法人税等調整額を1億75百万円計上しております(前年同期は39百万円)。

(2) 当期の財政状態の概況

当連結会計年度末の総資産は前連結会計年度末に比べ99億28百万円減少し、288億92百万円となりました。

流動資産は69億75百万円減少し、59億21百万円となっております。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権及び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回新株予約権についてその一部が行使され、20億55百万円を調達いたしました。現金及び預金は当期事業費用等の支払いにより68億74百万円減少し、41億60百万円となりました。コラテジェンの販売用製品を製造したことにより、製品が94百万円増加しております。コラテジェンの原薬を製造したことにより、原材料及び貯蔵品が4億63百万円増加して14億68百万円となりました。前年度の消費税が還付されたことにより、未収消費税等が3億92百万円減少しております。

当連結会計年度末の固定資産は29億52百万円減少し、229億71百万円となっております。Emendo社において、事業構造改革のための資産の計上基準等の見直しを行った結果、使用権資産が10億50百万円減少しております。円安による為替変動の影響により、のれんが前連結会計年度末に比べ15億8百万円減少して217億46百万円となりました。のれんの償却により30億81百万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円換算額が15億72百万円増加しました。投資有価証券が5億66百万円減少して3億55百万円となりました。主にVasomune社が発行する株式への出資により3億4百万円増加しておりますが、MyBiotics Pharma Ltd.株式及び転換社債につき、投資有価証券評価損8億49百万円を計上しております。

当連結会計年度末の負債は前連結会計年度末に比べ56億5百万円減少し、27億89百万円となりました。主にAMED及び厚生労働省からの助成金を補助金収入に振り替えたことにより、前受金が51億26百万円減少して6億37百万円となっております。Emendo社における事業構造改革費用の計上により、事業構造改革引当金5億58百万円を計上しております。固定負債については、Emendo社において、リース資産の計上基準の見直しを行った結果、リース債務が7億80百万円減少しております。

当連結会計年度末の純資産は前連結会計年度末に比べ43億22百万円減少し、261億3百万円となりました。第42回新株予約権及び第43回新株予約権の行使により、資本金及び資本剰余金がそれぞれ10億32百万円増加しております。親会社株主に帰属する当期純損失74億37百万円を利益剰余金に計上しております。2023年3月30日開催の第24期定時株主総会において、資本金及び資本準備金の額の減少並びに剰余金の処分について決議し、資本金を11億25百万円減少、資本準備金を150億76百万円減少、繰越利益剰余金を162億2百万円増加させ、欠損の填補に充当いたしました。これにより、資本金は350億53百万円、資本剰余金は34億23百万円、利益剰余金は△183億85百万円となっております。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10億49百万円増加しております。新株予約権は5百万円減少して95百万円となっております。Cantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権について、その一部が行使されましたが、2023年4月24日に公表いたしましたとおり、未行使の新株予約権を取得し、消却しております。当連結会計年度においてBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権を発行しております。Emendo社において従業員に対しストックオプションを発行しております。

(3) 研究開発の概況

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の分野において当社グループの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。2024年1月18日には米国Eiger社より導入した所謂早老症治療薬ゾキンヴィが厚生労働省より製造販売承認を取得いたしました。

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

■条件及び期限付き承認制度

プロジェクト (一般名)	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	条件・期限 付き承認	市販後 調査	承認審査	本承認
							第 I 相	第 II 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	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症潰瘍						承認済	実施中	審査中	

■通常の承認制度

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 (ベベルミノゲンペルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症				後期 実施中	目標症例数投与完了 経過観察		
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症						審査中	
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症						申請 準備中	
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 急性呼吸窮迫症候群				前期 実施中			
ゾキンヴィ (ロナファルニブ)	日本	Eiger (導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL) *				導入品	オーファン・ ドラッグに指定	承認済 (2024/1)	

*HGPS: ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 PL: プロジェロイド・ラミノパチー

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

国内における慢性動脈閉塞症を対象疾患としたHGF遺伝子治療用製品の開発については、2019年3月に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き承認を取得し、2019年9月より販売を開始いたしました。2021年末に製造販売後承認条件評価のための目標症例数である本品投与120例、比較対照80例の患者登録が完了し、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。当第4四半期においては、承認に向けた審査対応を実施いたしました。

米国における開発につきましては、2022年末までに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相臨床試験の当初目標症例60例の投与を完了し、さらに、脱落例をふまえ、2023年第1四半期に追加症例の登録を完了しております。2023年度においては、投与後の経過観察を実施いたしました。

その他、イスラエルでは、2022年に当社の提携先企業Kamada社が、イスラエル保健省に製造販売承認を申請し、現在審査が行われています。また、トルコでは、当社提携先企業Er-Kim社の申請に向け準備を進めておりますが、トルコ政府の財政面の問題等から停滞しております。

当社は、コラテジェンの日本及び米国における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を田辺三菱製薬と締結しております。

■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、安全性が確認できました。さらに、探索的に有効性を評価したところ、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められました。

当第4四半期においては、第II相臨床試験の投与を開始し、日本人における安全性をみるために最初の投与2症例について独立データ安全性モニタリング委員会で評価した結果、安全性に特に問題はなく引き続き第II相臨床試験の症例登録をすすめてまいります。なお、当該臨床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、新型コロナウイルスのDNA ワクチンとは異なるプラスミド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え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）に広げるべく米国FDAに試験計画の変更を申請し、承認を受けました。当第4四半期においては、米国において臨床試験を実施する医療機関を追加するとともに、当社の臨床試験の知見をもとに医療機関との連携を強化し、症例の登録を加速いたしました。2024年度は更なる医療機関との連携を進め年度内の目標症例数の登録を目指してまいります。

■ゾキンヴィ（一般名：ロナファルニブ）（導入品）

当社は、2022年5月に米国の医薬品企業であるEiger BioPharmaceuticals Inc.（以下「Eiger社」といいます。）と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーを適応症とする治療薬であるゾキンヴィについて、日本における独占販売契約を締結いたしました。2023年3月に希少疾病治療薬（オーファン・ドラッグ）の指定を受け、2023年5月に厚生労働省に製造販売承認申請を提出いたしました。当第4四半期においては、承認に向けた審査対応を実施し、2024年1月18日に厚生労働省より製造販売承認を取得いたしました。

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	PHASE1-3
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（※1）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」（※2）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。Emendo社ではOMNI Platformの更なる性能向上、効率化を目指した開発を継続しております。

同時にEmendo社では、様々な遺伝子疾患について、その疾患と遺伝子変異の分子機構の理解に基づき、疾患に応じてゲノム編集戦略を構築し、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、それをさらに標的配列に対して最適化して、これまでゲノム編集では対象とできなかった疾患を含め、様々な疾患に対する安全で有効な治療の開発を進めております。

なかでも、対立遺伝子（※3）配列の一方のみの変異により発症するELANE関連重症先天性好中球減少症（※4）の治療は、ほとんど同じ配列をもつ対立遺伝子のうち、変異のある遺伝子のみを破壊するという非常に精度の高いゲノム編集が必要となります。

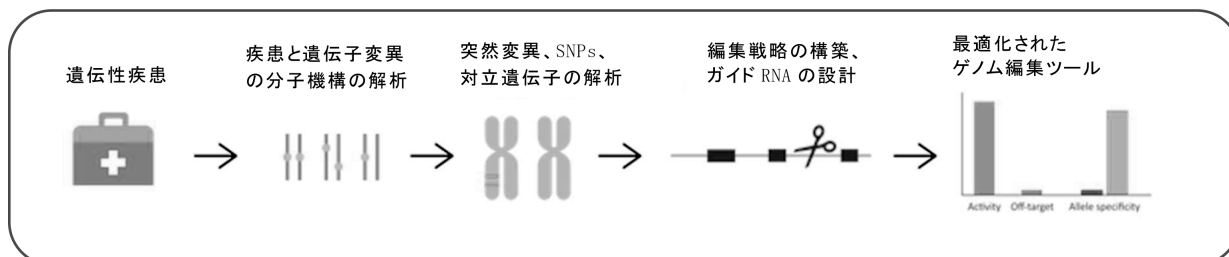
Emendo社では、ELANE関連重症先天性好中球減少症を対象とするゲノム編集治療について、早期の米国での臨床試験開始に向けた準備を継続しています。また、家族性高コレステロール血症（FH）を対象とするゲノム編集治療についても臨床試験に向けた研究開発を継続しております。

当第4四半期は、今般のガザ地区における紛争の影響で、Emendo社のイスラエルにある研究施設（以下、「Emendo R&D」という）における研究開発が難しくなりました。今後のゲノム編集に関するEmendo社の研究開発活動並びに事業計画策定にあたり、地政学的リスクを考慮する必要が増しております。

Emendo社では独自のOMNIヌクレアーゼの開発にあたり、その探索と最適化を労働集約的に行ってまいりましたが、

これまで蓄積された大量のデータをベースに、人工知能、なかんずく機械学習を活用し、知識集約的な研究開発体制に移行することを検討しております。

以上のように、Emendo社では人工知能の活用を中心とする研究開発機能を集約し、Emendo R&Dの規模もそれに見合ったものに再編成するとともに、その他の機能を米国に段階的に移管し、米国の拠点化を促進することを決定いたしました。イスラエルにおけるEmendo R&Dの施設は継続して使用するものの、研究開発人員を現状から半数以下に削減する検討を始めます。一方米国では、臨床試験の準備を進めているゲノム編集製品並びに他のパイプラインの研究開発を加速するとともに、Emendo社のゲノム編集技術の導出等を進める目的で、米国における体制の強化を加速してまいります。



- ※1 新規CRISPRスクレーパーゼ：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。
- ※3 対立遺伝子：ヒトの細胞には父親から受継いだ染色体と母親から受継いだ染色体がペアとなって存在しています。それぞれの染色体には基本的に同じ遺伝子が載っており、片方の染色体に載っている遺伝子から見て、もう片方の染色体の同じ場所に載っている遺伝子を対立遺伝子といいます。
- ※4 ELANE関連重症先天性好中球減少症：顆粒球系細胞の成熟障害により発症する好中球減少症で、発症すると細菌感染などが起きやすくなり、中耳炎や気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を繰り返し、敗血症などにより死亡することもある。

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）が展開する拡大新生児スクリーニングである「オプションスクリーニング」を受託しております。2023年度は、拡大新生児スクリーニングの受検者が増加したことに加え、こども家庭庁による脊髄性筋萎縮症（SMA）・重症複合免疫不全症（SCID）の2疾患を新生児マススクリーニングに追加する実証事業が発表されるなど希少遺伝性疾患のスクリーニング検査が注目された年となりました。このような状況のもと、いくつかの地方自治体から拡大新生児スクリーニングに関するご相談をいただいております。CReARID以外から2024年上期中の受託開始に向けた準備を進めております。

これに加え、希少遺伝性疾患の確定のための遺伝学的検査の技術対応を完了し、来年度から受託を開始する予定で準備を進めています。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。

また、現状のスクリーニング検査における偽陽性判定の削減に向けた検査手法の開発も行っており、スクリーニング検査の精度向上に取り組んでおります。

■マイクロバイオ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の製造法を確立しており、イスラエルにおいて第I相臨床試験を完了したクロストリジウム・ディフィシル感染症治療薬MBX-SD-202の米国開発の準備を進め、スイスFerring Pharmaceuticalsとその傘下にあるRebiotix Incと細菌性膣炎治療薬の共同開発に取り組んできましたが、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る状況となりました。

(4) 当期のキャッシュ・フローの概況

当連結会計年度における現金及び現金同等物（以下、「資金」といいます。）は、前連結会計年度末に比べ68億77百万円減少し、40億92百万円となりました。当連結会計年度のキャッシュ・フローの状況は次のとおりです。

(営業活動によるキャッシュ・フロー)

当連結会計年度における営業活動による資金の減少は、87億45百万円(前年同期は112億14百万円の減少)となりました。のれん償却費を30億81百万円、投資有価証券評価損を8億51百万円計上し、未収消費税等が3億92百万円減少、事業構造改革引当金が5億53百万円増加しておりますが、税金等調整前当期純損失74億71百万円に加え、為替差益を7億14百万円計上し、棚卸資産が5億57百万円増加、仕入債務が1億37百万円、未払金が1億49百万円、前受金が51億26百万円減少しております。その結果、前年同期と比べ、24億68百万円の支出減少となっております。

(投資活動によるキャッシュ・フロー)

当連結会計年度における投資活動による資金の減少は、3億56百万円(前年同期は97百万円の減少)となりました。Vasomune社が発行する株式への出資により、投資有価証券の取得による支出が2億75百万円発生しております。ACRLにおける新規検査機器の購入により、有形固定資産の取得による支出が89百万円発生しております。

(財務活動によるキャッシュ・フロー)

当連結会計年度における財務活動による資金の増加は、20億36百万円(前年同期は35億72百万円の増加)となりました。Cantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権及びBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権についてその一部が行使され、新株予約権の行使による株式の発行による収入が20億33百万円となっております。

(5) 今後の見通し

当社は、創薬系バイオベンチャーとして1999年の創業以来、遺伝子治療を中心に医薬品開発に取り組んでおります。

製品化するまでに長い年月を要する医薬品開発において、当社は、HGF遺伝子治療用製品、新型コロナウイルス関連医薬品、腰痛症や高血圧を適応症とした医薬品などの開発を継続しております。

2024年12月期の連結業績見通しにつきましては、「コラテジェン」、早老症治療剤「ゾキンヴィ」の販売及び希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査の手数料収入増により、事業収益は5億30百万円（当連結会計年度比246.4%増）と予想しております。

一方、引き続き先行投資のステージのため研究開発費が高止まりする見通しであることから営業損失は85億円（当連結会計年度の営業損失119億67百万円）を予想しております。経常損失は85億円（当連結会計年度の経常損失56億51百万円）、親会社株主に帰属する当期純損失は87億円（当連結会計年度の親会社株主に帰属する当期純損失74億37百万円）と予想しています。

当該業績予想の前提となる通期平均の為替レートは1米ドル=142円、1ユーロ=155円としています。

(6) 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ます。

当社グループでは、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品コラテジェンの条件及び期限付承認を厚生労働省から取得し、同年9月から販売を開始いたしました。その後、製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月に厚生労働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。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第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、2023年3月に脱落例をふまえた追加登録を完了し、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF-κB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、安全性が確認され、予定どおり症例登録を実施しております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症（COVID-19）による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進んだことから、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切迫症候群（ARDS）に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

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いため、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ます。

当社グループでは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社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プロジェクト化に向けて準備を進めております。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRスクレアーズを探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立し、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けた準備を進めております。同社はゲノム編集技術の開発をとおり、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患へのゲノム編集技術による治療を検討しております。

また、イスラエルにある同社研究所では、研究開発体制を従来の労働集約型から人工知能の活用を中心とする知能集約的な研究開発体制に移行し、規模もそれに見合ったものにするため、事業の再編成を進めてまいります。そのような研究開発体制の再編成に加えて、今般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響の地政学的リスクを考慮した結果、イスラエルにある同社研究所の人員削減を進めるとともに、米国における臨床試験の準備を加速し、ゲノム編集技術の導出等を進める目的で、米国での体制強化を進めてまいります。

また、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤に関する共同研究をスタンフォード大学と推進しており、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の進捗が見られております。

これらの開発並びに提携先との共同開発などにより、事業基盤の拡大を目指してまいります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本における独占販売契約を締結し、厚生労働省から希少疾病治療薬（オーファンドラッグ）の指定を受け2023年5月に、同省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として、すでに米国及び欧州で承認を受け、販売されており、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認を取得いたしました。

また、事業基盤の拡大として、首都圏を中心に「希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査」を受託しているACRLでは自治体や民間の検査センター等との連携により受託拡大を進めてまいります。さらに、これまでの拡大新生児スクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定検査）や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実施できる体制の構築を進め、検査業務の売上拡大を目指してまいります。

今後も、ライセンス導入や共同開発、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、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。

コラテジェンに関しましては、日本と米国を対象とした独占的販売契約を田辺三菱製薬と締結しており、マイルストーン収入やロイヤリティ収入が見込めます。また、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理され審査中です。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

また、NF- κ 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、研究開発活動及び事業基盤の拡大を推進することは継続的な発展のために重要であり、そのためには状況に応じ機動的に資金調達を行うことが必要となります。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権（第三者割当て）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、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）発行の決議を行い、2023年12月末日までに9億94百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。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43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、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、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連結財務諸表には反映しておりません。

2. 会計基準の選択に関する基本的な考え方

当社グループは、連結財務諸表の期間比較可能性及び企業間の比較可能性を考慮し、日本基準で連結財務諸表を作成しております。

なお、IFRSの適用につきましては国内外の諸情勢等を考慮の上、適切に対応していく方針であります。

3. 連結財務諸表及び主な注記

(1) 連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当連結会計年度 (2023年12月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	11,035,102	4,160,424
売掛金	※1 9,887	※1 26,534
製品	3,453	97,655
原材料及び貯蔵品	1,004,996	1,468,481
前渡金	303,436	49,674
前払費用	91,734	85,906
未収消費税等	392,081	-
その他	55,766	32,599
流動資産合計	12,896,458	5,921,276
固定資産		
有形固定資産		
建物	209,531	220,842
減価償却累計額及び減損損失累計額	△128,082	△135,121
建物（純額）	81,448	85,721
工具、器具及び備品	71,195	149,893
減価償却累計額及び減損損失累計額	△59,941	△80,224
工具、器具及び備品（純額）	11,253	69,669
使用権資産	1,318,216	267,728
有形固定資産合計	1,410,919	423,118
無形固定資産		
のれん	23,254,472	21,746,086
無形固定資産合計	23,254,472	21,746,086
投資その他の資産		
投資有価証券	※2 921,573	※2 355,545
敷金及び保証金	97,969	102,056
繰延税金資産	158,067	342,944
その他	81,252	1,509
投資その他の資産合計	1,258,862	802,055
固定資産合計	25,924,253	22,971,260
資産合計	38,820,711	28,892,536

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当連結会計年度 (2023年12月31日)
負債の部		
流動負債		
買掛金	553,252	426,447
未払金	590,301	474,522
未払費用	90,094	36,947
事業構造改革引当金	-	558,129
未払消費税等	-	93,258
未払法人税等	148,339	103,147
前受金	5,764,004	637,550
預り金	16,865	15,434
リース債務	160,743	147,726
流動負債合計	7,323,600	2,493,163
固定負債		
繰延税金負債	12,416	16,827
資産除去債務	64,317	64,430
リース債務	994,969	214,949
固定負債合計	1,071,704	296,207
負債合計	8,395,304	2,789,370
純資産の部		
株主資本		
資本金	35,146,368	35,053,890
資本剰余金	17,467,693	3,423,721
利益剰余金	△27,150,247	△18,385,610
自己株式	△31	△31
株主資本合計	25,463,783	20,091,969
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	19,396	24,757
為替換算調整勘定	4,841,242	5,891,202
その他の包括利益累計額合計	4,860,639	5,915,960
新株予約権	100,984	95,236
純資産合計	30,425,406	26,103,166
負債純資産合計	38,820,711	28,892,536

(2) 連結損益計算書及び連結包括利益計算書

連結損益計算書

(単位：千円)

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
事業収益		
製品売上高	※1 11,614	※1 23,242
手数料収入	※1 55,446	※1 115,677
研究開発事業収益	-	14,066
事業収益合計	67,061	152,985
事業費用		
売上原価	※1 93,889	※1 133,540
研究開発費	※2、3 10,999,325	※2、3 6,172,944
販売費及び一般管理費	※4 5,290,649	※4 5,814,005
事業費用合計	16,383,864	12,120,490
営業損失(△)	△16,316,803	△11,967,504
営業外収益		
受取利息	1,830	8,413
為替差益	1,322,156	745,049
補助金収入	393,514	5,551,319
受取手数料	9,768	23,702
投資事業組合運用益	-	8,010
雑収入	6,235	0
営業外収益合計	1,733,506	6,336,495
営業外費用		
株式交付費	24,949	20,217
投資事業組合運用損	806	-
新株予約権発行費	962	-
営業外費用合計	26,718	20,217
経常損失(△)	△14,610,015	△5,651,225
特別利益		
新株予約権戻入益	3,870	3,096
特別利益合計	3,870	3,096
特別損失		
減損損失	※5 104,800	※5 -
投資有価証券評価損	※6 6,048	※6 851,105
事業構造改革費用	-	※7 904,955
その他の投資評価損	-	67,223
特別損失合計	110,849	1,823,285
税金等調整前当期純損失(△)	△14,716,994	△7,471,415
法人税、住民税及び事業税	37,481	142,750
法人税等還付税額	△328	△1,439
法人税等調整額	△39,375	△175,118
法人税等合計	△2,222	△33,807
当期純損失(△)	△14,714,772	△7,437,607
親会社株主に帰属する当期純損失(△)	△14,714,772	△7,437,607

連結包括利益計算書

(単位：千円)

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
当期純損失(△)	△14,714,772	△7,437,607
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	△17,044	5,360
為替換算調整勘定	2,937,230	1,049,960
その他の包括利益合計	※ 2,920,185	※ 1,055,320
包括利益	△11,794,586	△6,382,287
(内訳)		
親会社株主に係る包括利益	△11,794,586	△6,382,287
非支配株主に係る包括利益	-	-

(3) 連結株主資本等変動計算書

前連結会計年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

(単位：千円)

	株主資本				
	資本金	資本剰余金	利益剰余金	自己株式	株主資本合計
当期首残高	33,359,568	15,680,893	△12,435,475	△31	36,604,955
当期変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)	1,786,799	1,786,799			3,573,599
減資					-
欠損填補					-
親会社株主に帰属する当期純損失(△)			△14,714,772		△14,714,772
株主資本以外の項目の当期変動額(純額)					-
当期変動額合計	1,786,799	1,786,799	△14,714,772	-	△11,141,172
当期末残高	35,146,368	17,467,693	△27,150,247	△31	25,463,783

	その他の包括利益累計額			新株予約権	純資産合計
	その他有価証券評価差額金	為替換算調整勘定	その他の包括利益累計額合計		
当期首残高	36,441	1,904,012	1,940,453	89,332	38,634,741
当期変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)					3,573,599
減資					-
欠損填補					-
親会社株主に帰属する当期純損失(△)					△14,714,772
株主資本以外の項目の当期変動額(純額)	△17,044	2,937,230	2,920,185	11,652	2,931,837
当期変動額合計	△17,044	2,937,230	2,920,185	11,652	△8,209,334
当期末残高	19,396	4,841,242	4,860,639	100,984	30,425,406

当連結会計年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

(単位：千円)

	株主資本				
	資本金	資本剰余金	利益剰余金	自己株式	株主資本合計
当期首残高	35,146,368	17,467,693	△27,150,247	△31	25,463,783
当期変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)	1,032,897	1,032,897			2,065,794
減資	△1,125,375	1,125,375			-
欠損填補		△16,202,244	16,202,244		-
親会社株主に帰属する当期純損失(△)			△7,437,607		△7,437,607
株主資本以外の項目の当期変動額(純額)					-
当期変動額合計	△92,478	△14,043,971	8,764,636	-	△5,371,813
当期末残高	35,053,890	3,423,721	△18,385,610	△31	20,091,969

	その他の包括利益累計額			新株予約権	純資産合計
	その他有価証券評価差額金	為替換算調整勘定	その他の包括利益累計額合計		
当期首残高	19,396	4,841,242	4,860,639	100,984	30,425,406
当期変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)					2,065,794
減資					-
欠損填補					-
親会社株主に帰属する当期純損失(△)					△7,437,607
株主資本以外の項目の当期変動額(純額)	5,360	1,049,960	1,055,320	△5,747	1,049,573
当期変動額合計	5,360	1,049,960	1,055,320	△5,747	△4,322,240
当期末残高	24,757	5,891,202	5,915,960	95,236	26,103,166

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税金等調整前当期純損失	△14,716,994	△7,471,415
減価償却費	18,235	27,884
減損損失	104,800	-
のれん償却額	2,883,589	3,081,173
受取利息	△1,830	△8,413
為替差損益 (△は益)	△1,331,189	△714,582
投資事業組合運用損益 (△は益)	806	△8,010
投資有価証券評価損益 (△は益)	6,048	851,105
その他の投資評価損	-	67,223
株式交付費	24,904	20,217
株式報酬費用	-	42,427
新株予約権戻入益	△3,870	△3,096
売上債権の増減額 (△は増加)	377	△16,647
棚卸資産の増減額 (△は増加)	215,300	△557,687
仕入債務の増減額 (△は減少)	△185,011	△137,490
前渡金の増減額 (△は増加)	1,413,401	263,726
未払又は未収消費税等の増減額	27,822	485,365
未払金の増減額 (△は減少)	△130,994	△149,211
未払費用の増減額 (△は減少)	△1,694	△58,514
事業構造改革引当金の増減額 (△は減少)	-	553,564
前受金の増減額 (△は減少)	644,251	△5,126,454
その他の流動資産の増減額 (△は増加)	40,340	14,719
その他の固定資産の増減額 (△は増加)	4,647	△5,437
その他の流動負債の増減額 (△は減少)	145,372	△108,896
その他の固定負債の増減額 (△は減少)	△324,821	290,403
小計	△11,166,507	△8,668,045
利息の受取額	1,830	8,413
法人税等の支払額	△49,569	△87,567
法人税等の還付額	-	1,439
営業活動によるキャッシュ・フロー	△11,214,246	△8,745,759
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	△19,569	△89,331
投資有価証券の取得による支出	△74,140	△275,679
投資事業組合からの分配による収入	-	8,339
敷金及び保証金の差入による支出	△4,431	△104
敷金及び保証金の回収による収入	1,000	122
投資活動によるキャッシュ・フロー	△97,141	△356,653

(単位：千円)

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
財務活動によるキャッシュ・フロー		
新株予約権の行使による株式の発行による収入	3,521,621	2,033,131
ストックオプションの行使による収入	1	10
新株予約権の発行による収入	50,920	8,481
新株予約権の買入消却による支出	-	△5,159
財務活動によるキャッシュ・フロー	3,572,543	2,036,465
現金及び現金同等物に係る換算差額	872,824	188,424
現金及び現金同等物の増減額 (△は減少)	△6,866,020	△6,877,523
現金及び現金同等物の期首残高	17,835,704	10,969,684
現金及び現金同等物の期末残高	※ 10,969,684	※ 4,092,160

(5) 連結財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前題に関する注記)

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、継続企業の前題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ます。

当社グループでは、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品コラテジェンの条件及び期限付承認を厚生労働省から取得し、同年9月から販売を開始いたしました。その後、製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月に厚生労働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。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第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、2023年3月に脱落例をふまえた追加登録を完了し、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- κ 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、安全性が確認され、予定どおり症例登録を実施しております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症(COVID-19)による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進んだことから、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切迫症候群(ARDS)に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

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いため、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ます。

当社グループでは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社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プロジェクト化に向けて準備を進めております。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・最適化するプラットフォーム技術(OMNI Platform)を確立し、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けた準備を進めております。同社は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へのゲノム編集技術による治療を検討しております。

また、イスラエルにある同社研究所では、研究開発体制を従来の労働集約型から人工知能の活用を中心とする知能集約的な研究開発体制に移行し、規模もそれに見合ったものにするため、事業の再編成を進めてまいります。そのような研究開発体制の再編成に加えて、今般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響の地政学的リスクを考慮した結果、イスラエルにある同社研究所の人員削減を進めるとともに、米国における臨床試験の準備を加速し、ゲノム編集技術の導出等を進める目的で、米国での体制強化を進めてまいります。

また、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤に関する共同研究をスタンフォード大学と推進しており、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の進捗が見られております。

これらの開発並びに提携先との共同開発などにより、事業基盤の拡大を目指してまいります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本における独占販売契約を締結し、厚生労働省から希少疾病治療薬(オーファンドラッグ)の指定を受け2023年5月に、同省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として、すでに米国及び欧州で承認を受け、販売されており、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認を取得いたしました。

また、事業基盤の拡大として、首都圏を中心に「希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査」を受託して

いるACRLでは自治体や民間の検査センター等との連携により受託拡大を進めてまいります。さらに、これまでの拡大新生児スクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定検査）や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実施できる体制の構築を進め、検査業務の売上拡大を目指してまいります。

今後も、ライセンス導入や共同開発、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、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。

コラテジェンに関しましては、日本と米国を対象とした独占的販売契約を田辺三菱製薬と締結しており、マイルストーン収入やロイヤリティ収入が見込めます。また、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理され審査中です。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

また、NF- κ 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、研究開発活動及び事業基盤の拡大を推進することは継続的な発展のために重要であり、そのためには状況に応じ機動的に資金調達を行うことが必要となります。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権（第三者割当て）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、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）発行の決議を行い、2023年12月末日までに9億94百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。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43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、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、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連結財務諸表には反映しておりません。

(連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項)

1 連結の範囲に関する事項

全ての子会社を連結しております。

(1) 連結子会社……3社

AnGes USA, Inc.

EmendoBio Inc.

Emendo Research and Development Ltd.

2 持分法の適用に関する事項

① 持分法を適用する非連結子会社及び関連会社

該当事項はありません。

② 持分法を適用しない非連結子会社及び関連会社

MyBiotics Pharma Ltd.

③ 持分法を適用しない理由

持分法を適用しない上記会社は当期純損益（持分に見合う額）及び利益剰余金（持分に見合う額）等からみて持分法の対象から除いても連結財務諸表に及ぼす影響が軽微であり、かつ全体としても重要性が乏しいため、持

分法の適用範囲から除外しております。

3 連結子会社の事業年度に関する事項

連結子会社の事業年度の末日は連結決算日と一致しております。

4 会計方針に関する事項

(1) 重要な資産の評価基準及び評価方法

① 有価証券

(a) 関連会社株式及びその他の関連会社有価証券

移動平均法による原価法

(b) その他有価証券

市場価格のない株式等以外のもの

時価法

(評価差額は、全部純資産直入法により処理し、売却原価は、移動平均法により算定)

市場価格のない株式等

移動平均法による原価法

なお、投資事業有限責任組合への出資(金融商品取引法第2条第2項により有価証券とみなされるもの)については、組合契約に規定される決算報告日に応じて入手可能な直近の決算書を基礎とし、持分相当額を純額で取り込む方法によっております。

② 棚卸資産

(a) 製品、原材料

移動平均法による原価法(貸借対照表価額は収益性の低下に基づく簿価切下げの方法によって算定)

(b) 貯蔵品

個別法による原価法(貸借対照表価額は収益性の低下に基づく簿価切下げの方法によって算定)

(2) 重要な減価償却資産の減価償却の方法

① 有形固定資産(リース資産を除く)

定率法

ただし、2016年4月1日以降に取得した建物附属設備及び構築物については、定額法を採用しております。

また、在外連結子会社は定額法によっております。

なお、主な耐用年数は以下のとおりであります。

建物 8年～18年

工具、器具及び備品 5年～15年

② リース資産

在外連結子会社については、米国会計基準 ASU2016-02「リース」を適用し、リースの借手は、原則としてすべてのリースを貸借対照表に資産及び負債として計上しており、資産計上された使用権資産はリース期間を耐用年数とし、減価償却方法は定額法によっております。

(3) 重要な繰延資産の処理方法

① 株式交付費及び新株予約権発行費

支出時に全額費用として計上しております。

(4) 重要な収益及び費用の計上基準

当社グループは、医薬品の研究開発を行っており、主に製品販売収入及び手数料収入を得ております。当社の顧客との契約から生じる収益に関する主な履行義務の内容及び当該履行義務を充足する通常の時点(収益を認識する通常の時点)は以下のとおりであります。

① 製品販売収入

医薬品の販売による収益は、医薬品に対する支配を顧客に移転することにより履行義務が充足されるときに認識することとなりますが、当社グループにおける医薬品等の国内の販売において、出荷時から当該医薬品の支配が顧客に移転されるときまでの期間が通常の期間であるため、「収益認識に関する会計基準の適用指針」第98項に定める代替的な取り扱いを適用して出荷時に収益を認識しております。

② 手数料収入

オプションスクリーニング検査事業におきましては、新生児の希少遺伝性疾患に関する検査の受託を行っ

ており、顧客との契約に基づいて、検査結果を報告する履行義務を負っております。当該履行義務は、検査結果を顧客に報告した一時点において、顧客が当該測定結果に対する支配を獲得することから、当該時点で収益を認識しております。

(5) 重要な外貨建の資産又は負債の本邦通貨への換算基準

外貨建金銭債権債務は、連結決算日の直物為替相場により円貨に換算し、換算差額は損益として処理しております。

なお、在外子会社等の資産及び負債は、連結決算日の直物為替相場により円貨に換算し、収益及び費用は期中平均相場により円貨に換算し、換算差額は純資産の部の為替換算調整勘定に含めて計上しております。

(6) 連結キャッシュ・フロー計算書における資金の範囲

資金(現金及び現金同等物)は、手許現金、随時引き出し可能な預金及び容易に換金可能であり、かつ、価値の変動について僅少なりスクしか負わない取得日から3ヶ月以内に償還期限の到来する短期投資としております。

(7) のれんの償却方法及び償却期間

10年間の定額法により、償却しております。

(重要な会計上の見積り)

(1) 連結財務諸表に計上した金額

のれん 21,746,086 千円

(2) 識別した項目に係る重要な会計上の見積りの内容に関する情報

当社グループは既存のプロジェクトに加え、ゲノム創薬を推進するため、新規ゲノム編集技術と開発パイプラインを保有するEmendo社を2020年12月に子会社化いたしました。

企業結合により認識したのれんは、取得原価と被取得企業の識別可能資産及び負債の企業結合日時点の時価との差額で計上し、その効果の及ぶ期間に亘って、定額法により規則的に償却しております。

当社グループは、株式取得時に見込んだ超過収益力が将来に亘って発現するかに着目し、Emendo社の事業計画における研究開発計画について、実際の進捗を確認した上で減損兆候の有無を判断しております。

事業計画及びその前提となる仮定は、経営者の最善の見積りによって決定しておりますが、将来の研究開発の進捗等によって影響を受ける可能性があり、仮定の見直しが必要となった場合には翌連結会計年度以降の連結財務諸表において、のれんの金額に重要な影響を与える可能性があります。

(会計方針の変更)

「時価の算定に関する会計基準の適用指針」(企業会計基準適用指針第31号 2021年6月17日。以下「時価算定会計基準適用指針」という。)を当連結会計年度の期首から適用し、時価算定会計基準適用指針第27-2項に定める経過的な取扱いに従って、時価算定会計基準適用指針が定める新たな会計方針を将来にわたって適用することとしております。これによる、連結財務諸表に与える影響はありません。

(連結貸借対照表関係)

※1 顧客との契約から生じた債権

売掛金については、すべて顧客との契約から生じた債権の金額であり、顧客との契約から生じた債権以外の債権は含まれておりません。

※2 関連会社に対するものは、次のとおりであります。

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当連結会計年度 (2023年12月31日)
投資有価証券(株式)	775,271 千円	0 千円
投資有価証券(その他の有価証券)	74,140	0

(連結損益計算書関係)

※1 (前連結会計年度)

製品売上高から製品売上原価を差し引いた売上総利益は、△14,053千円であります。

手数料収入から手数料売上原価を差し引いた売上総利益は、△12,775千円であります。

なお、事業収益については、すべて顧客との契約から生じる収益の金額であり、顧客との契約から生じる収益以外の収益は含まれておりません。

(当連結会計年度)

製品売上高から製品売上原価を差し引いた売上総利益は、3,736千円であります。

手数料収入から手数料売上原価を差し引いた売上総利益は、1,642千円であります。

なお、事業収益については、すべて顧客との契約から生じる収益の金額であり、顧客との契約から生じる収益以外の収益は含まれておりません。

※2 期末棚卸高は収益性の低下による簿価切下後の金額であり、次の棚卸資産評価損が売上原価及び研究開発費に含まれております。

前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
708,325千円	14,586千円

※3 研究開発費の主要な費目及び金額は次のとおりであります。

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
給料及び手当	1,102,600千円	1,268,474千円
外注費	5,905,862	1,995,400
支払手数料	448,842	766,163
研究用材料費	1,957,876	729,711
地代家賃	77,022	82,545
減価償却費	7,061	3,559

※4 販売費及び一般管理費のうち主要な費目及び金額は次のとおりであります。

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
役員報酬	286,491千円	344,106千円
給料及び手当	294,548	331,406
株式報酬	—	11,226
支払手数料	855,257	1,213,633
租税公課	301,307	222,438
減価償却費	2,799	—
のれん償却額	2,883,589	3,081,173
地代家賃	236,562	280,122

※5 減損損失の内容は次のとおりであります。

前連結会計年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

① 減損損失を認識した資産の概要

場所	用途	種類	金額(千円)
東京支社(東京都港区)	統括業務施設	建物、工具、器具及び備品	32,976
研究用施設(神奈川県川崎市他)	研究用施設	建物、工具、器具及び備品	71,823

② 減損損失の認識に至った経緯

当社が保有する「医薬品開発事業」の資産につきまして営業活動から生ずる損益が継続してマイナスであり、現段階では将来のキャッシュ・フローに不確実性が高いことから、減損損失を認識しております。

③ 減損損失の金額

固定資産	金額 (千円)
建物	95,146
工具、器具及び備品	9,654
合計	104,800

「医薬品開発事業」の資産につきましては、帳簿価額を回収可能価額（使用価値）まで減額し、当該減少額を減損損失として計上しております。なお、使用価値については、将来キャッシュ・フローが見込めないため零としております。

④ 資産のグルーピングの方法

当社グループは、プロジェクトの区分に従い「医薬品開発事業」及び「検査受託サービス」にグルーピングしております。

当連結会計年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

該当事項はありません。

※6 投資有価証券評価損

前連結会計年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

当社が保有する投資有価証券について実質価額が著しく下落したため減損処理をしております。

当連結会計年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

当社が保有する投資有価証券について実質価額が著しく下落したため減損処理をしております。

※7 Emendo社の研究開発部門の再編に伴う事業構造改革費用904,955千円を計上しております。主な内訳は、次のとおりであります。

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
減損損失 (使用権資産)	一千円	250,285千円
契約解除費用	—	542,519
退職金	—	101,270
その他	—	10,880
計	—	904,955

(連結包括利益計算書関係)

※ その他の包括利益に係る組替調整額及び税効果額

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
その他有価証券評価差額金		
当期発生額	△30,441千円	5,859千円
組替調整額	6,048千円	1,693千円
税効果調整前	△24,393千円	7,553千円
税効果額	7,348千円	△2,192千円
その他有価証券評価差額金	△17,044千円	5,360千円
為替換算調整勘定		
当期発生額	2,937,230千円	1,049,960千円
その他の包括利益合計	2,920,185千円	1,055,320千円

(連結株主資本等変動計算書関係)

前連結会計年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

1 発行済株式に関する事項

株式の種類	当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末
普通株式(株)	153,072,400	25,551,500	-	178,623,900

(変動事由の概要)

新株の発行

新株予約権の権利行使による増加 25,550,000株

ストック・オプションの権利行使による増加 1,500株

2 自己株式に関する事項

株式の種類	当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末
普通株式(株)	92	-	-	92

3 新株予約権等に関する事項

会社名	内訳	目的となる株式の種類	目的となる株式の数(株)				当連結会計年度末残高(千円)
			当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末	
提出会社	第32回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1	普通株式	32,000	-	-	32,000	16,576
	第34回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1	普通株式	32,000	-	-	32,000	24,768
	第36回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1(注)2	普通株式	62,000	-	6,500	55,500	42,957
	第42回新株予約権(2022年10月12日発行)(注)1(注)2	普通株式	-	38,000,000	25,550,000	12,450,000	16,683
合計			126,000	38,000,000	25,556,500	12,569,500	100,984

(注) 1 目的となる株式の数は、新株予約権が権利行使されたものと仮定した場合における株式数を記載しております。

2 新株予約権の目的となる株式の数の変動事由の概要

第36回ストック・オプションとしての新株予約権の減少のうち1,500株は権利行使によるものであり、5,000株は退職による権利失効であります。

第42回新株予約権の増加は発行によるものであります。減少は権利行使によるものであります。

当連結会計年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

1 発行済株式に関する事項

株式の種類	当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末
普通株式(株)	178,623,900	19,846,400	-	198,470,300

(変動事由の概要)

新株の発行

新株予約権の権利行使による増加

19,846,400株

2 自己株式に関する事項

株式の種類	当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末
普通株式(株)	92	-	-	92

3 新株予約権等に関する事項

会社名	内訳	目的となる株式の種類	目的となる株式の数(株)				当連結会計年度末残高(千円)
			当連結会計年度期首	増加	減少	当連結会計年度末	
提出会社	第32回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1	普通株式	32,000	-	-	32,000	16,576
	第34回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1	普通株式	32,000	-	-	32,000	24,768
	第36回ストック・オプションとしての新株予約権(注)1(注)2	普通株式	55,500	-	4,000	51,500	39,861
	第42回新株予約権(2022年10月12日発行)(注)1(注)2	普通株式	12,450,000	-	12,450,000	-	-
	第43回新株予約権(2023年7月12日発行)(注)1(注)2	普通株式	-	44,639,300	11,246,400	33,392,900	6,344
連結子会社	—	—	-	-	-	7,686	
合計			12,569,500	44,639,300	23,700,400	33,508,400	95,236

(注) 1 目的となる株式の数は、新株予約権が権利行使されたものと仮定した場合における株式数を記載しております。

2 新株予約権の目的となる株式の数の変動事由の概要

第36回ストック・オプションとしての新株予約権の減少は退職による権利失効であります。

第42回新株予約権の減少のうち、8,600,000株は権利行使によるものであり、3,850,000株は買入消却によるものであります。

第43回新株予約権の増加は発行によるものであります。減少は権利行使によるものであります。

(連結キャッシュ・フロー計算書関係)

※ 現金及び現金同等物の期末残高と連結貸借対照表に掲記されている科目の金額との関係は、次のとおりであります。

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
現金及び預金	11,035,102千円	4,160,424千円
拘束性預金	△65,418千円	△68,264千円
現金及び現金同等物	10,969,684千円	4,092,160千円

(セグメント情報等)

【セグメント情報】

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であるため、記載を省略しております。

【関連情報】

前連結会計年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

1 製品及びサービスごとの情報

外部顧客への売上高は、単一の製品・サービスによるものであるため、記載を省略しております。

2 地域ごとの情報

(1) 売上高

本邦以外の外部顧客への売上高がないため、該当事項はありません。

(2) 有形固定資産

(単位：千円)

日本	イスラエル	合計
92,702	1,318,216	1,410,919

3 主要な顧客ごとの情報

(単位：千円)

顧客の名称又は氏名	売上高	関連するセグメント名
一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会	55,446	医薬品
田辺三菱製薬株式会社	11,614	医薬品

当連結会計年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

1 製品及びサービスごとの情報

外部顧客への売上高は、単一の製品・サービスによるものであるため、記載を省略しております。

2 地域ごとの情報

(1) 売上高

本邦の外部顧客への売上高が連結損益計算書の売上高の90%を超えるため、記載を省略しております。

(2) 有形固定資産

(単位：千円)

日本	イスラエル	合計
155,390	267,728	423,118

3 主要な顧客ごとの情報

(単位：千円)

顧客の名称又は氏名	売上高	関連するセグメント名
一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会	115,677	医薬品
田辺三菱製薬株式会社	23,242	医薬品

【報告セグメントごとの固定資産の減損損失に関する情報】

該当事項はありません。

【報告セグメントごとののれんの償却額及び未償却残高に関する情報】

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であるため、記載を省略しております。

【報告セグメントごとの負ののれん発生益に関する情報】

該当事項はありません。

(1株当たり情報)

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
1株当たり純資産額	169円77銭	131円04銭
1株当たり当期純損失	94円29銭	39円29銭

(注) 1 潜在株式調整後1株当たり当期純利益金額については、ストック・オプション制度導入に伴う新株予約権残高がありますが、1株当たり当期純損失が計上されているため記載しておりません。

2 1株当たり純資産額の算定上の基礎は以下のとおりであります。

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当連結会計年度 (2023年12月31日)
純資産の部の合計額(千円)	30,425,406	26,103,166
純資産の部の合計額から控除する金額(千円)	100,984	95,236
(うち新株予約権)	(100,984)	(95,236)
普通株式にかかる期末の純資産額(千円)	30,324,422	26,007,930
期末の普通株式の数(株)	178,623,808	198,470,208

3 1株当たり当期純損失の算定上の基礎は以下のとおりであります。

	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
親会社株主に帰属する当期純損失(千円)	14,714,772	7,437,607
普通株主に帰属しない金額(千円)	—	—
普通株式に係る親会社株主に帰属する 当期純損失(千円)	14,714,772	7,437,607
普通株式の期中平均株式数(株)	156,052,874	189,276,690
希薄化効果を有しないため、潜在株式調整後1株 当たり当期純利益の算定に含めなかった潜在株式 の概要	会社法第236条、第238条 及び第240条に基づく取 締役会決議による新株予 約権(新株予約権の数 1,195個) 取締役会決議による新株 予約権(新株予約権の数 124,500個)	会社法第236条、第238条 及び第240条に基づく取 締役会決議による新株予 約権(新株予約権の数 1,155個) 取締役会決議による新株 予約権(新株予約権の数 333,929個)

(重要な後発事象)

1 Emendo社事業再編について

当社は2024年1月29日の取締役会において、子会社のEmendo社における、事業再構築について決議いたしました。事業再構築の内容は、本決算短信「1. 経営成績等の状況 (3) 研究開発の概況」に記載のとおり、同社の研究開発を従来の労働集約型から人工知能を活用した知識集約型に移行することに伴い、体制及び組織の再構築を実施し、イスラエルにおける研究開発機能を段階的に米国に移管し、米国の拠点化を促進いたします。この方針に基づき、イスラエルにおける研究開発人員を現状から削減するなど、事業再構築を進めております。2023年度において、事業構造改革費用904,955千円を特別損失に計上しておりますが、2024年度において現時点で概算で1億46百万円の退職費用を見込んでおります。

2. 新株予約権の行使

当社が発行いたしました第43回新株予約権につき、2024年1月1日から2024年2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	620個（発行総数の0.14%）
交付株式数	62,000株
行使価額総額	4,610千円
未行使新株予約権個数	333,309個
増加する発行済株式数	62,000株
資本金増加額 ※1、2	2,310千円
資本剰余金増加額 ※1、2	2,310千円

※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5千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権行使による新株発行の結果、2024年2月7日現在の発行済株式総数は198,537,300株、資本金は35,058,138千円、資本剰余金は3,427,969千円となっております。

なお、2024年1月1日から2024年2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5,000株が、資本金及び資本準備金に1,937千円が、それぞれ含まれております。