

# AnGes, Inc.

アンジェス株式会社

## Introduction

はじめに



### はじめに

アンジェスは、遺伝子医薬技術を活用し、革新的な医薬品開発に取り組むバイオ製薬企業です。遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指し、遺伝子の働きを利用した新しいタイプのバイオ医薬品である遺伝子医薬の開発を行っています。

当社は大阪大学の基礎研究を基に1999年に設立されて以降、研究と開発の段階を経て、いよいよ商業化に向けた第2ステージを迎えました。足の血流が極度に悪化する慢性動脈閉塞症を対象としたHGF遺伝子治療用製品については、2019年3月、国内における条件及び期限付製造販売承認を取得し、同年9月に田辺三菱製薬より製造販売を開始しました。これは国内では初の遺伝子治療用製品となります。またプラスミド製法での製品化は世界初となります。そして、2023年5月に条件解除に向け、製造販売承認を申請いたしました。

当社は、その他にも、さまざまな炎症を抑える核酸医薬「NF-κBデコイオリゴ」や、経鼻投与製剤の新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチン並びに高血圧DNAワクチンも開発しています。

また、国内で承認されていない希少疾患治療薬の導入も進めており、2024年1月に早老症治療薬ゾキンヴィの製造販売承認を取得しております。

研究・開発から実用化へ――。アンジェスは「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指し今後も新薬を 待ち望んでおられる患者さんをはじめ、そのご家族、株主・投資家の皆様、社会一般の方々のご期待に応 えるべく前進します。

### **Our Vision & Mission**

経営理念



#### **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

- ●遺伝子医薬のグローバルリーダー 世界で認知される遺伝子治療・核酸医薬のスペシャリストとなる
- ●新市場の創出

治療法のない病気の新薬を実用化する

#### 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。

#### 行動指針

理念の達成を目指し、社名のA-N-G-E-Sをキーワードにした指針に則って行動します。

Aspiration<sup>\</sup> 志

挑戦する精神と熱意を持ち続け、 変化を恐れずに自ら変革者となります。

Network ネットワーク

患者さん、医療関係者、株主・投資家、提携企業、社員、 地域社会といったネットワークの重要性を認識し大切にします。

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。

## **Pipeline**

開発パイプラインの状況



### 開発品(臨床開発ステージにある自社開発品の状況)

#### 2024年3月現在

プロジェクト	開発コード剤形	対象疾患	地域	開発ステージ・備考
HGF遺伝子治療用製品 (ベペルミノゲン ペルプラスミド)	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	日本	潰瘍の症状を対象:条件及び 期限付き製造販売承認取得済 2019年9月より田辺三菱製薬 が販売開始 2023年5月に条件解除のた めの製造販売承認を申請
		閉塞性動脈硬化症	米国	P2b試験実施中
NF-κBデコイオリゴ	AMG0103 注射剤	椎間板性腰痛症	日本	P2試験実施中
高血圧DNAワクチン	AGMG0201 注射剤	高血圧	豪州	P1/2a試験完了
新型コロナウイルス DNAワクチン	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症	米国	スタンフォード大学と 共同研究
急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)治療薬	AV-001 注射剤	新型コロナウイルス 感染症	米国	P2a試験実施中

#### ●導入開発品

• 早老症治療薬 ゾキンヴィ (一般名:ロナファルニブ)

[導入元: EigerBioPharmaceuticals (米)]

2024年1月に日本国内における製造販売承認を取得 2024年5月に日本国内での発売予定

# **Group / Alliance**

グループ会社 / 提携状況



2024年3月現在

### グループ会社

Company	Business
EmendoBio Inc. (U.S.)	ゲノム編集技術における共同開発
AnGes USA, Inc. (U.S.)	米国を拠点とする遺伝子医薬品開発

### 自社開発品の販売権供与先

開発名	対象疾患	地域	提携先
	慢性動脈閉塞症	日本	田辺三菱製薬
HGF遺伝子治療薬 (ベペルミノ		イスラエル	Kamada
ゲンペルプラスミド)		トルコ	Er-Kim
	閉塞性動脈硬化症	米国	田辺三菱製薬
N F -κΒデコイオリゴ	皮膚疾患	全世界	塩野義製薬

### 戦略的提携

提携先	内容	
MyBiotics Pharma (Israel)	マイクロバイオーム-常在菌の培養、製剤化	
Vasomune Therapeutics (Canada)	急性呼吸窮迫症候群(ARDS)治療薬の共同開発	

## **Project**

HGF遺伝子治療用製品



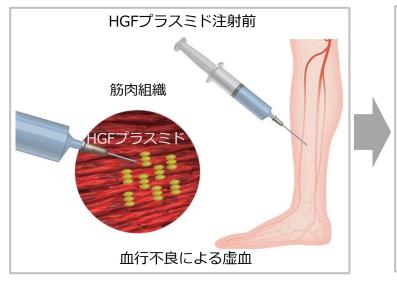
### 慢性動脈閉塞症を対象とした遺伝子治療用製品

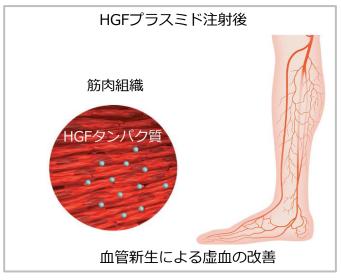
HGFは、肝臓の細胞を増やす因子として1984年に日本で発見されました。最初は、肝臓の病気の治療薬として研究されていましたが、HGFの遺伝子を投与することで血管を新しく増やす治療法が1995年に大阪大学の森下竜一教授らの研究チームにより発見されました。HGF遺伝子治療用製品は、血管が詰まり血流が悪くなっている虚血性疾患に対し「血管を新生する」というこれまでにない作用を有する治療薬になる可能性があります。

血管が詰まることによって生じる病気には、例えば、糖尿病などによる動脈硬化が原因で足の動脈が閉塞し、血液がうまく届かず壊死して最終的には足を切断しなければならなくなる慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症やバージャー病)等があります。これらの病気に対する現在の治療法として、重症例に対しては薬物療法に加えてバルーンカテーテルによる血管内治療(カテーテルにより血管を通して動脈の再疎通を行う治療法)や外科的なバイパス手術が主流ですが、薬物療法が効かず、カテーテルや手術の適用が困難な患者さんについては有効な治療手段がありません。

当社は、2019年3月、重症虚血肢を対象としたHGF遺伝子治療用製品の条件及び期限付製造販売申請承認を取得し、同年9月に田辺三菱製薬より国内で販売を開始しています。これは、標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善を効能、効果又は性能とするもので、国内では初の遺伝子治療用製品となります。

#### HGF遺伝子治療用製品による血管新生(慢性動脈閉塞症)





## **Project**

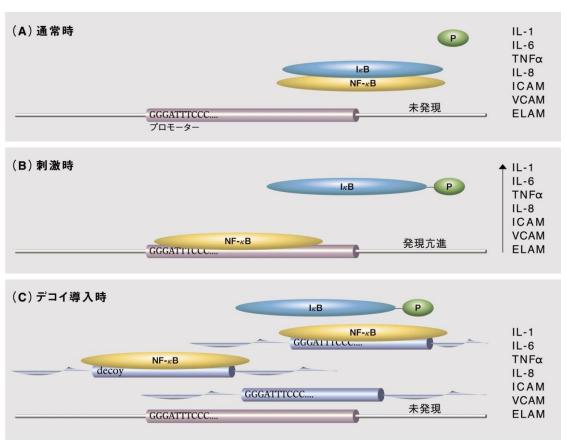
NF-κBデコイオリゴ

遺伝子をターゲットにした医薬品にはHGF遺伝子治療用製品のように遺伝子そのものを利用するもの以外にも、人工的に作成される比較的短い核酸により遺伝子の働きを制御するものもあります。このタイプの 医薬品は、核酸医薬と呼ばれ、デコイオリゴ核酸、アンチセンス、siRNAやアプタマーなどが知られています。

当社が開発しているNF-κBデコイオリゴ核酸は、この核酸医薬の一種です。遺伝子が発現する際、転写因子と呼ばれる蛋白質がゲノムの特定の配列領域に結合してスイッチが入りますが、デコイオリゴ核酸は、そのゲノム上の転写因子結合部分と同じ配列を含む短い核酸(DNA)を人工的に合成したものです。 デコイとは元来「おとり」を意味する言葉で、デコイオリゴ核酸は細胞内においてゲノムの「おとり」として特定の転写因子と結合するため、その転写因子がゲノムに結合できず、結果として特定の遺伝子の発現が抑制されます。

当社では、生体内で免疫・炎症反応を担う遺伝子群のスイッチ『転写因子NF-κB』に対する特異的な阻害 剤『NF-κBデコイオリゴ』を設計し、NF-κBの活性化による過剰な免疫・炎症反応を原因とする疾患の新 しい治療薬として研究開発を進めています。

#### NF-κBデコイオリゴの作用原理



## **Project**

DNAワクチン



当社の遺伝子医薬に関する研究開発で蓄積された創薬研究ノウハウと開発技術を活かし、DNAワクチンの研究開発プロジェクトを進めています。DNA ワクチンは、たんぱく質の設計図であるDNA そのものを体内に導入し、目的の抗原を体内で作ることにより高いワクチン効果を発揮し、かつ効果が持続するのが大きな特徴です。がんやアレルギー疾患、さらには一部の慢性疾患の治療にも応用できる可能性があり、将来的に大きな市場に成長する可能性があります。

### 高血圧DNAワクチン

高血圧DNAワクチンはアンジオテンシンIIを標的としたもので、長期間安定した降圧作用を発揮することから、血圧の過度な日内変動の抑制や服薬コンプライアンスの良好でない患者への適応など、既存の高血圧治療薬にはない特長を持つことが期待されます。この高血圧DNAワクチンの基本技術は大阪大学の研究チームによって開発されました。

### 新型コロナウイルスDNAワクチン

2019年末から世界中で猛威を振るった新型コロナウイルス感染症を予防するためのワクチンとして、2020年3月から大阪大学と共にプラスミドDNA製法を使用したHGF遺伝子治療用製品を実用化した実績を元に、DNAワクチンの開発を行ってまいりました。その知見をふまえ、2022年9月より、米国スタンフォード大学と経鼻投与製剤によるDNAワクチンの共同研究を行っております。

## **Corporate information**

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** 35,053百万円(2023年12月末現在) **発行済株式数** 198,470,300株(2023年12月末現在) **従業員数** 145名(2023年12月末現在:連結)

主な事業 遺伝子医薬品の研究開発

### 事業所

**本社** 〒567-0085 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

東京支社 〒108-0014 東京都港区芝四丁目13番3号 PMO田町Ⅱ9階

殿町研究開発センター 〒210-0821 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

(CMC開発部・創薬研究部)

アンジェス 〒210-0821 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 4階

クリニカルリサーチラボラトリー(ACRL)

### グループ会社

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

EmendoBio Inc. 400 W 61st St, #2330 New York, NY USA

## 「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指す 創薬バイオベンチャー

