



AnGes

**アンジェス株式会社
株主向け会社説明会**

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を自指して～



2022年3月

1

森下先生よりご説明

2

事業別トピックス

3

これからのアンジェスについて

4

森下先生と山田社長によるお話

5

質疑応答

+

補足資料

01

森下先生よりご説明

02

事業別トピックス

当社の事業領域

(開発パイプラインとアライアンスの全体像)

パイプライン

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）、およびDNAワクチンの研究開発

HGF
遺伝子
治療用製品

NF-κB
デコイオリゴ
DNA

高血圧
DNAワクチン

新型
コロナウイルス
DNAワクチン

ゲノム編集
による
難病治療

アライアンス

アンジェスでは、事業基盤を拡大し将来の成長を実現するために、
さらなるパイプラインの拡充に向けた新規事業への展開に取り組んでいます。

新型
コロナウイルス
治療薬

マイクロ
バイオーム
事業

臨床開発ステージにあるプロジェクトの状況

■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	開発コード 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	販売	市販後 調査	本承認
							第I相	第II相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミンゲンベルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	

■通常の承認制度

プロジェクト	地域	導出先	開発コード 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 (ベベルミンゲンベルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	実施中	患者投与完了 (2021年12月) NEW	
	米国	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	後期 実施中			
	イスラエル	Kamada		慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	申請 準備中		
	トルコ	Er-Kim		慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	申請 準備中		
NF-kBデコイオリゴDNA	米国	-	AMG0103 注射剤	腰痛症	▶	▶	完了				
DNAワクチン	オーストラリア	-	AGMG0201 注射剤	高血圧	▶	▶	完了				
DNAワクチン	国内外	-		新型コロナウイルス 感染症	▶	▶	▶	実施中	全接種完了 (2021年11月) NEW		
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune		新型コロナウイルス 感染症および 急性呼吸窮迫症候群	▶	▶	完了	前期 実施中		前期第II相 開始 (2022年1月) NEW	

※開発パイプラインとしては、上述のプロジェクト以外に、探索・基礎研究・非臨床試験段階で慢性B型肝炎治療薬、エボラ出血熱抗血清製剤があります。

HGF遺伝子治療用製品 開発状況

HGF遺伝子をコードしたプラスミド製剤。
HGFは血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・
組織の形成・再生において重要な役割をもつ。

▶ 慢性動脈閉塞症の症状の改善

“血管を新生する遺伝子治療薬” HGF遺伝子治療用製品「コラテジェン®」

アンジェスは、2019年、世界で初めてプラスミドDNAを用いたHGF遺伝子治療薬を製品化することに成功しました。



コラテジェン®筋注用 4mg

【薬価】

611,478円/ 1バイアル（1瓶）

【効能、効果又は性能】

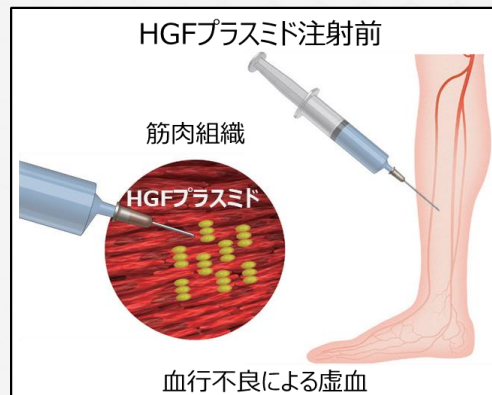
標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善

【用法及び用量又は使用方法】

通常、成人には、投与対象肢の虚血部位に対して1カ所あたり本品0.5mgを8カ所に4週間間隔で2回筋肉内投与する（1回総計4mg × 2回）。

なお、臨床症状が残存する場合には2回目投与の4週後に3回目の投与を行うこともできる。また、投与に際しては、日局生理食塩液で希釈し、希釈後の1カ所あたりの薬液量は3mLとし、投与対象筋が小さい場合には2mLまで減じてよい。

HGF遺伝子治療用製品による血管新生



当社のHGF遺伝子治療用製品の開発状況

現在アンジェスでは、HGF遺伝子治療用製品の開発を以下3通り進めています。

- ① **日本国内における、慢性動脈閉塞症の潰瘍(かいよう)**
- ② **日本国内における、慢性動脈閉塞症の安静時疼痛(とうつう)**
- ③ **米国における、慢性動脈閉塞症**

■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	開発コード 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	販売	市販後 調査	本承認
							第I相	第II相	第III相					
① HGF遺伝子治療用製品 (ヘベルミノゲンヘルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	

■通常の承認制度

プロジェクト	地域	導出先	開発コード 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			
② HGF遺伝子治療用製品 (ヘベルミノゲンヘルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	▶	▶	実施中	
③ HGF遺伝子治療用製品 (ヘベルミノゲンヘルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶	後期 実施中	

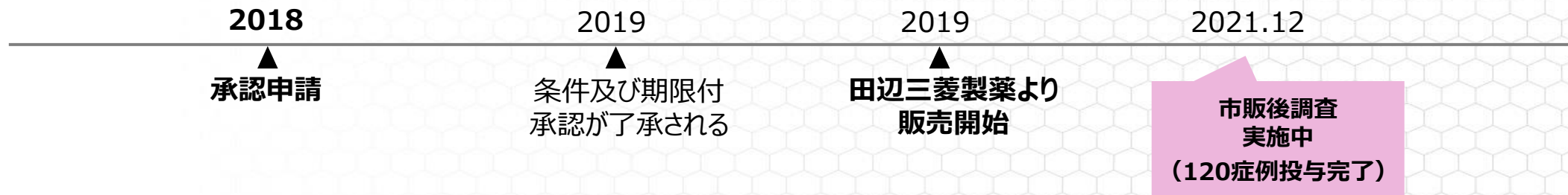
このうち、条件及び期限付き承認制度を活用し、


2019年、世界で初めてDNAプラスミドを用いたHGF遺伝子治療薬が製品化されたのは、

「①日本国内における、慢性動脈閉塞症の潰瘍」を対象としています。

本承認に向けて、市販後調査実施中。 （2021年12月時点で120例の投与は完了）

市販後調査は
5年（2024年）以内に
120症例を元に本承認を目指す



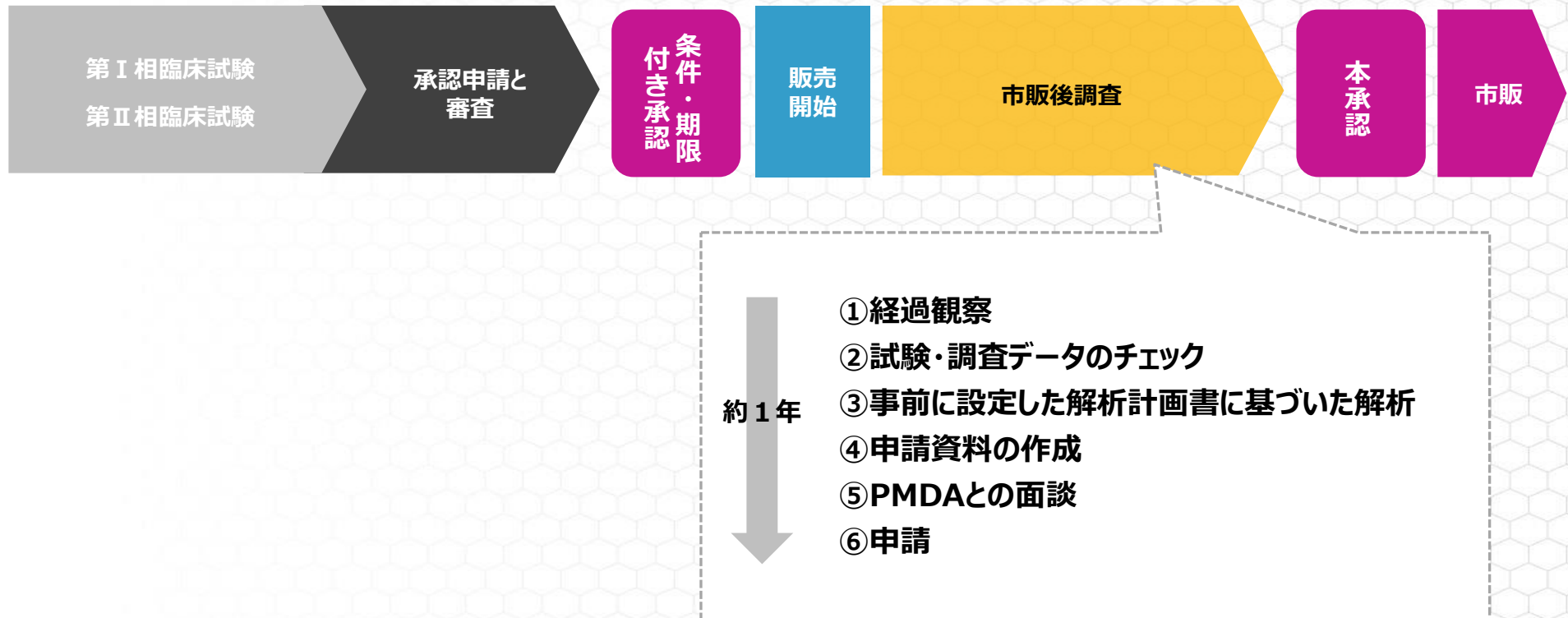
対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍 （血管が完全に詰まり、血流が遮断され、栄養や酸素の不足により、ちょっとした傷でも治癒できず、虚血性の潰瘍や壊疽（えそ）が起こる状態）
開発状況	2019年9月10日より 田辺三菱製薬より販売開始。 市販後調査での120症例を元に、5年(2024年)以内に本承認を目指す。（2021年12月時点で120例の投与完了） 

- 2019年9月：田辺三菱製薬より販売開始
- 2019年2月：厚生労働省 薬事・食品衛生審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会にて条件及び期限付製造販売の承認。
- 2018年1月：厚生労働省に対し製造販売承認申請。
- 2015年：田辺三菱製薬と国内における末梢性血管疾患を対象とする独占的販売権許諾契約を締結。

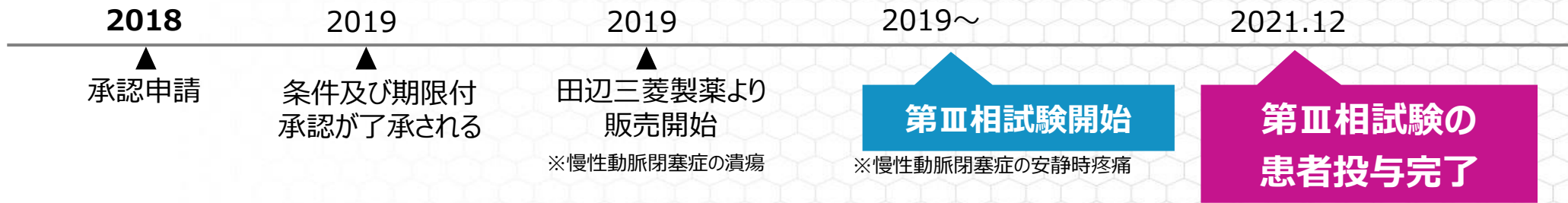
本承認までのプロセス

2017年にできた制度で、
120症例の投与完了後（今後）、
下記のようなステップを踏んで本承認に向けて申請をしていきます。

・条件及び期限付承認制度



適応拡大のため、第Ⅲ相臨床試験 患者投与完了



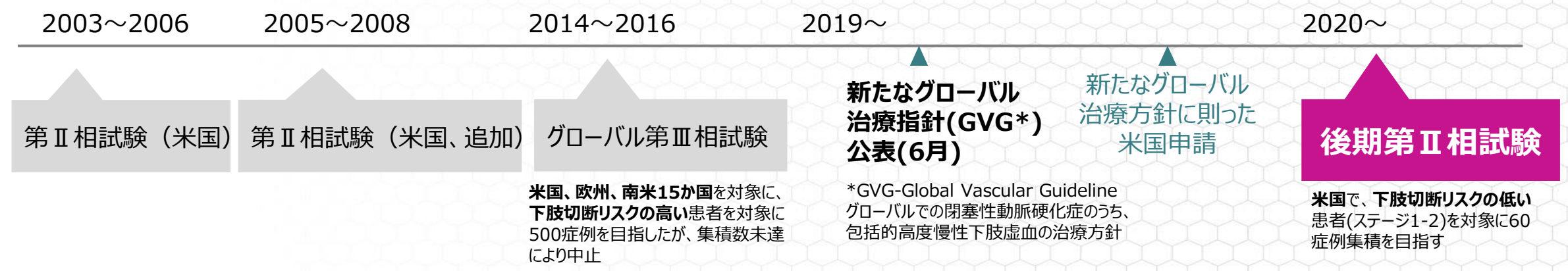
条件及び期限付承認制度に連動した、当製品の適応拡大

HGF遺伝子治療用製品の適応拡大となる「安静時疼痛」の承認を目指している。「安静時疼痛」の承認に向けたプロセスは、左図の新制度における「潰瘍の改善」について条件解除（本承認と称する）に併せて第Ⅲ相臨床試験による効能追加を申請。

対象疾患	慢性動脈閉塞症の安静時疼痛
開発状況	第Ⅲ相臨床試験の患者投与完了（2021年12月）

- 2021年12月：第Ⅲ相臨床試験の患者投与完了。
- 2019年10月：本承認に向け、約2年で約40の症例数の第Ⅲ相臨床試験を開始。
- 2015年：田辺三菱製薬と国内における末梢性血管疾患を対象とする独占的販売権許諾契約を締結。

米国にて、後期第Ⅱ相臨床試験を実施中。 （2021年12月時点で約40例）



対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍
開発状況	米国での後期第Ⅱ相臨床試験を実施中（2020年2月～） * 2021年12月時点で約40例

2020年：トルコを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書をEr-Kim社と締結。
米国で、新たなガイドライン（Global Vascular Guideline）に沿った後期第Ⅱ相試験を実施中。

2019年：イスラエルを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書をKamada社と締結。

2012年：田辺三菱製薬と米国における末梢性血管疾患を対象とする独占的販売権許諾契約を締結。

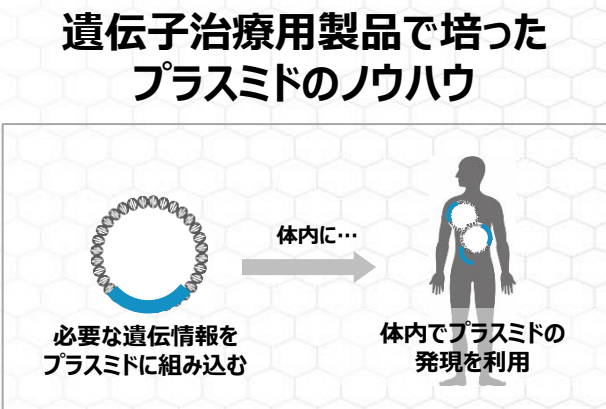
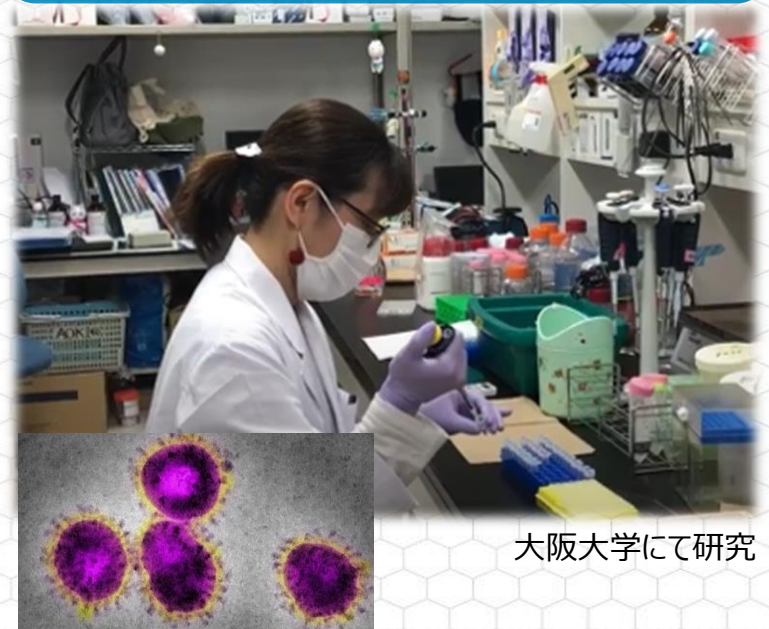
新型コロナウイルスDNAワクチン

世界初のプラスミド製剤による 遺伝子治療用製品で培ったノウハウを活かし、 新型コロナウイルスDNAワクチン開発を始めました。

HGF遺伝子治療用製品の 開発・製品化の実績



新型コロナウイルス DNAワクチン開発



プラスミドは免疫原性が無く、
数週間で分解されて体内に残らないため、
反復投与することが可能。

高用量製剤での接種量を増やした 第 I / II 相臨床試験を実施中

国際標準に準じた治験結果の
判断が必要であり、
海外の機関で調査中

2020年3月～

2020年8月

2020年10月

2021年3月

2021年11月

ワクチン開発
プロジェクト発表

厚生労働省
ワクチン生産体制等
緊急整備事業に採択

第 I / II 相
臨床試験
全接種完了

第 II / III 相
臨床試験
全接種完了

高用量製剤での
第 I / II 相臨床試験
全接種完了

高用量製剤での
後続の臨床試験や製品化

対象疾患

新型コロナウイルス感染症

開発状況

高用量製剤での第 I / II 相臨床試験 全接種完了(2021年11月)



- 2021年11月 : 高用量製剤での第 I / II 相臨床試験接種完了。
- 2021年8月 : 高用量製剤での第 I / II 相臨床試験接種開始。
- 2021年3月 : 第 II / III 相臨床試験全接種完了。
- 2020年10月 : 第 I / II 相臨床試験全接種完了。
- 2020年3月 : 大阪大学と共同でコロナウイルスの予防用DNAワクチン開発を開始。
ワクチンの原薬完成、非臨床試験開始。

変異株ワクチンの承認フローについて

PMDA 2021年4月5日発表のガイドライン

変異株ワクチンの承認に関しては、
2021年4月5日 PMDAより発表された
「変異株に対するワクチンの評価について」のガイドラインに沿って行います。

変異株ワクチンの承認ステップ

親ワクチンの開発・治験

承認

変異株ワクチンの開発・治験

- ①国内で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの承認を取る（親ワクチン）
- ②親ワクチン承認後に変異株ワクチンの承認へ向けて進められる

詳しくはPMDAの資料をご覧ください。

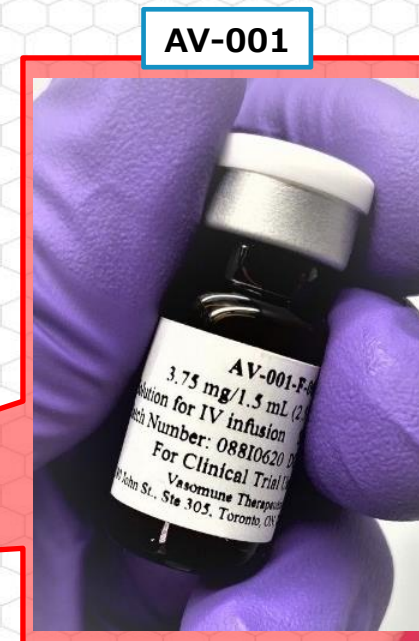
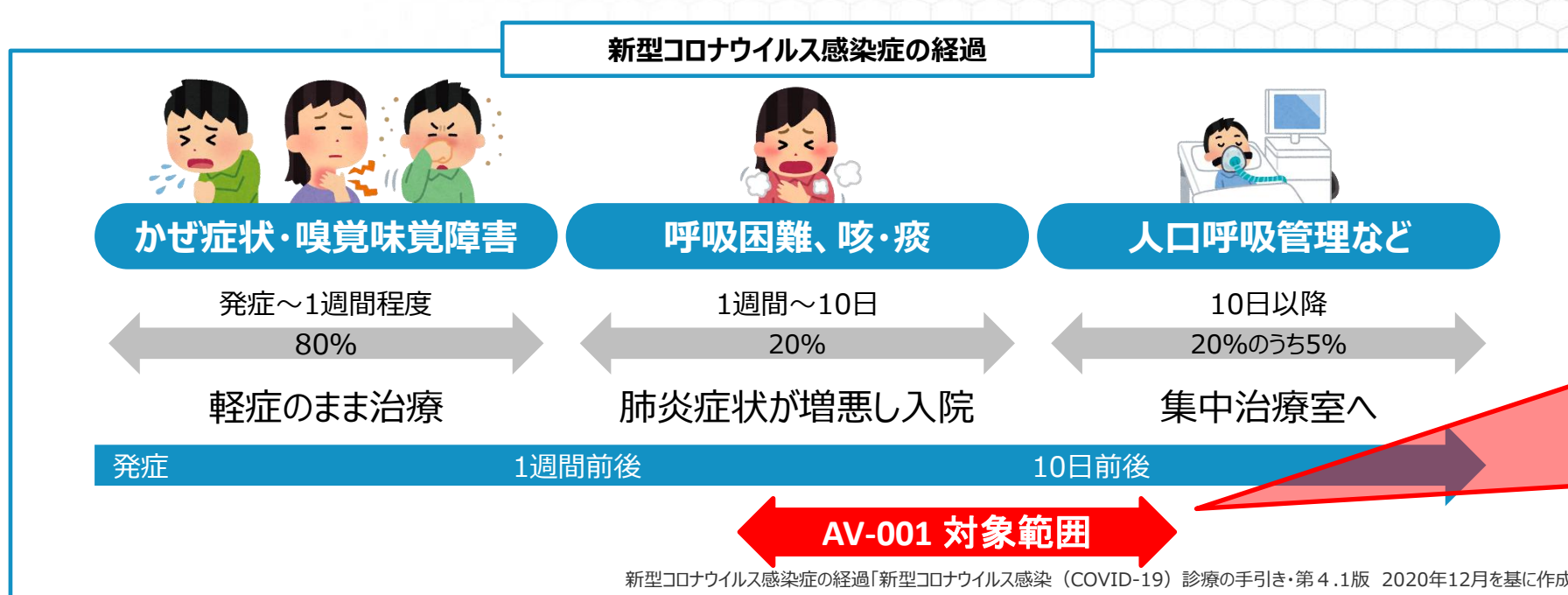
「新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチンの評価に関する考え方（補遺 1）変異株に対するワクチンの評価について」

<https://www.pmda.go.jp/files/000240283.pdf>

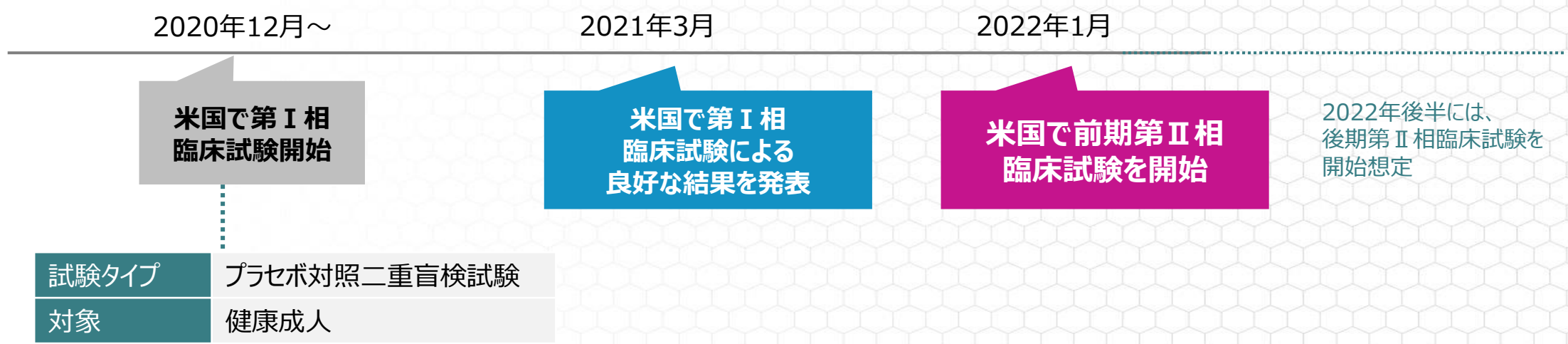
COVID-19治療薬 (AV-001)

COVID-19治療薬「AV-001」とは

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**を進めている、Tie2受容体アゴニスト。
もともと2018年より、全世界を対象に、
急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした医薬品として共同開発を実施してきたが、
新型コロナウイルス感染症における、**中等度から重度のCOVID-19肺炎患者の治療薬**としても、
2020年より米国で臨床試験を開始しました。



前期第Ⅱ相臨床試験 開始



対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	Tie2受容体アゴニスト化合物（COVID-19治療薬）「AV-001」 米国で前期第Ⅱ相臨床試験を開始（2022年1月）

- 2021年3月 : COVID-19治療薬AV-001 : 米国で第Ⅰ相臨床試験による良好な結果を発表
Vasomune社がCOVID-19治療薬「AV-001」開発でカナダ政府から助成金を獲得。
- 2020年12月 : COVID-19治療薬AV-001 : 米国で第Ⅰ相臨床試験開始。
第Ⅰ相臨床試験ではAV-001の安全性と忍容性を確認。
- 2018年7月 : バソミュン・セラピューティクス社（カナダ）と「AV-001」共同開発を開始。
対象疾患 : 急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患

NF-κBデコイオリゴDNA 開発状況

生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子NF-κBに対する特異的な阻害剤。
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治療薬として研究開発中。

▶ 椎間板性腰痛症

次世代型デコイを開発中。

▶ キメラデコイ

米国での後期第 I 相臨床試験の患者投与完了 経過観察後の試験結果を発表 (安全性・有効性を確認)



対象疾患	椎間板性腰痛症
開発状況	米国で後期第 I 相臨床試験で25例の患者投与が完了 (2020年2月)。 試験結果を公表 (安全性・有効性を確認)

2021年4月：後期第 I 相臨床試験の試験結果 (観察期間12か月間) を発表。
 2021年2月：後期第 I 相臨床試験の試験結果 (観察期間6か月間) を発表。
 2020年2月：25例の患者投与が完了。
 2018年2月：米国にて後期第 I 相臨床試験を開始。

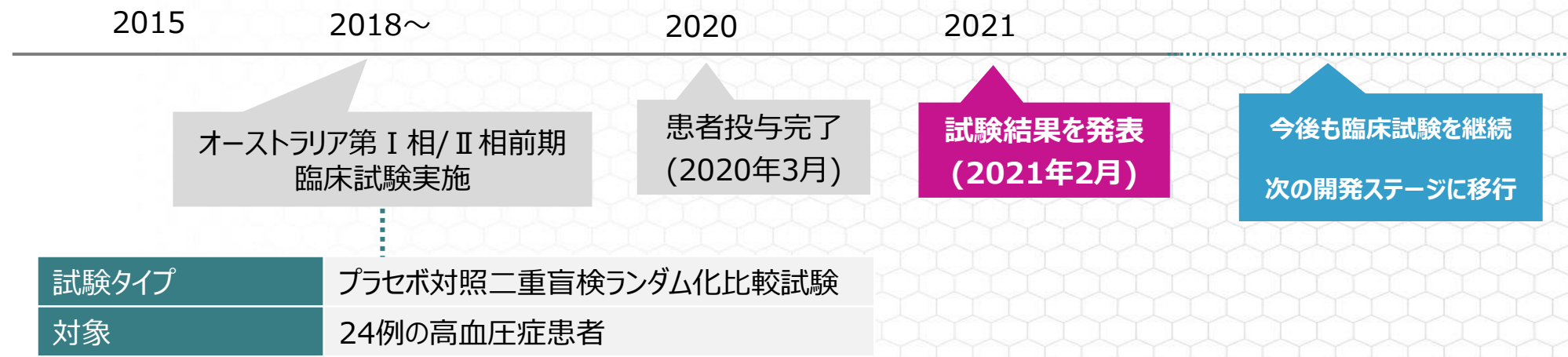
※米国を含め世界での市場規模が大きい。
 ※米国では椎間板内注射による治療は一般的でこの手技に習熟している医師は多く、また患者数も多い。

高血圧DNAワクチン 開発状況

DNAを利用した治療および予防ワクチン。
作用する期間が長いなど、既存の治療薬に比べ様々な
長所を持つ。潜在的な市場規模は大きい。

▶ 高血圧

オーストラリアでの第 I 相 / 前期第 II 相臨床試験の患者投与完了。 経過観察後の試験結果を発表（安全性に問題なし）



対象疾患

高血圧

開発状況

オーストラリア第 I 相 / 前期第 II 相臨床試験の患者投与が完了 (2020年3月)。
試験結果を公表 (重篤な有害事象は無く、安全性に問題なし)

2021年2月 : 第 I / 前期 II 相臨床試験の試験結果を発表。

2020年3月 : 第 I / 前期 II 相臨床試験の患者投与が完了。

今後、二重盲検下で約6ヶ月間の安全性と有効性を評価。その後約6ヶ月の非盲検下で長期安全性および有効性を評価

2018年4月 : オーストラリアにて第 I 相 / II 相前期臨床試験を開始。



ゲノム編集 具体的なプロジェクト化

ELANE関連重症先天性好中球減少症を対象とした プロジェクト化に向けて



Emendo社の新たなゲノム編集ツールを作出する技術（OMNI Platform）を活用し、
ELANE関連重症先天性好中球減少症（SCN）を対象に、臨床入りを目指します。

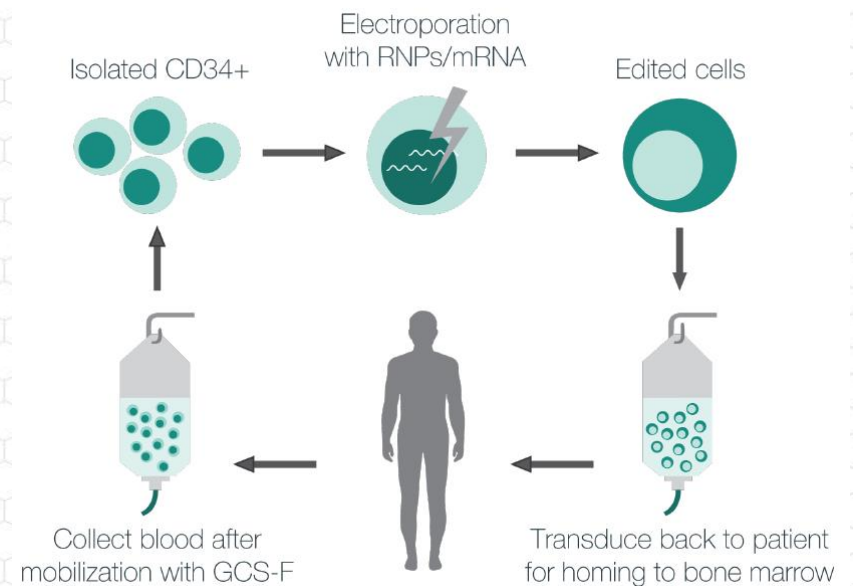
【対象疾患】

■ ELANE(好中球エラスターゼ遺伝子)関連 重症先天性好中球減少症(SCN)

※骨髄における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あり、
中耳炎、気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を反復し、時に敗血症も発症。

本件については、Emendo社が、米国などの学会で発表をしており、
その内容を当社HPのブログでも日本語で解説しております。

<https://www.anges.co.jp/blog/detail.php?p=100417>



03

これからのアンジェスについて

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？



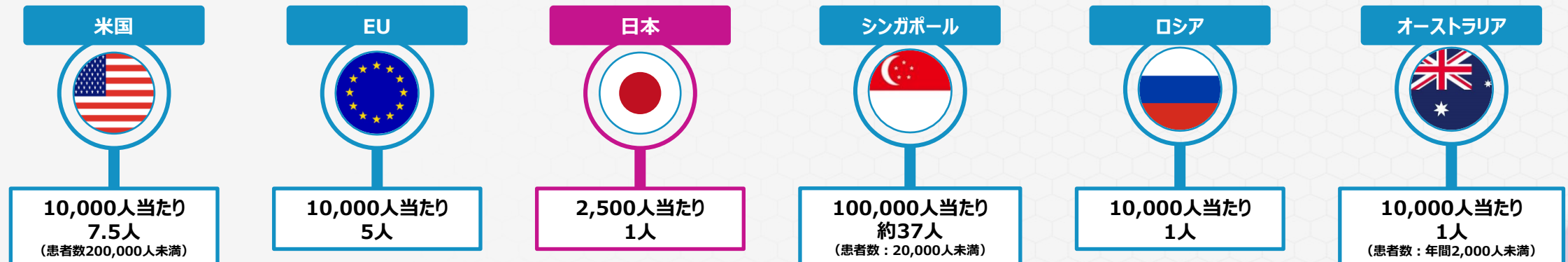
希少疾患の
80%は遺伝性

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

表 - 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）



難病に指定される疾病の数は増えている



私たちの難病・希少疾患への取り組み実績

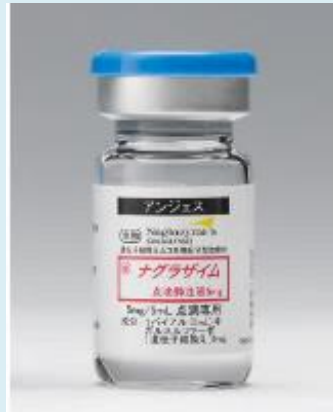
1999年

2008年 ~ 2019年

2019年~

今後、薬効拡大していくことで、さらなる希少疾患へのアプローチも視野に！

ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の販売



慢性動脈閉塞症 遺伝子治療用製品「コラテジエン®」



2019年にバイオマリン社日本法人に事業承継

販売および販売促進は、田辺三菱製薬に委任

ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム[®]」について



知り合いの小児科医から
“子供の高額な治療費のために、
街頭で募金活動をしている両親がいること”
を聞いたのがきっかけで、
ムコ多糖症VI型患者の存在を知りました。

当時、この治療薬は日本に無く、アメリカから輸入していることを聞いて、
私（山田）は「何とかします」と即答しました。

その後、すぐにアメリカへ行き交渉の結果、
日本国内における「ナグラザイム[®]」の開発販売権を取得。

2年の承認期間を経て
2008年～2019年の期間、国内での販売を行っていました。

※発売最終年の2019年の時点で、日本での患者数は9人。
既に3人は骨髄移植を選択しているため、6人がこの治療薬を投与していました。

アンジェス 2022年度の指針

2021年度

今取り組んでいるものを実らせるべく、
駆け抜けていく年



2022年度

新しい展開を考え、
ますます発展、進化していく端緒になる年

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL : 旧衛生検査所)

希少遺伝性疾患

- ・患者数が極めて少ない遺伝病
(フェニルケトン尿症、ムコ多糖症、デュシェンヌ型筋ジストロフィー等)
- ・発症早期、望ましくは発症前の治療開始が重要

新生児を対象とした検査



マススクリーニング

- ・日本出生の全新生児に無償実施
(フェニルケトン尿症、先天性甲状腺機能低下症等)

オプションスクリーニング

- ・オプションで有料実施
- ・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)

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

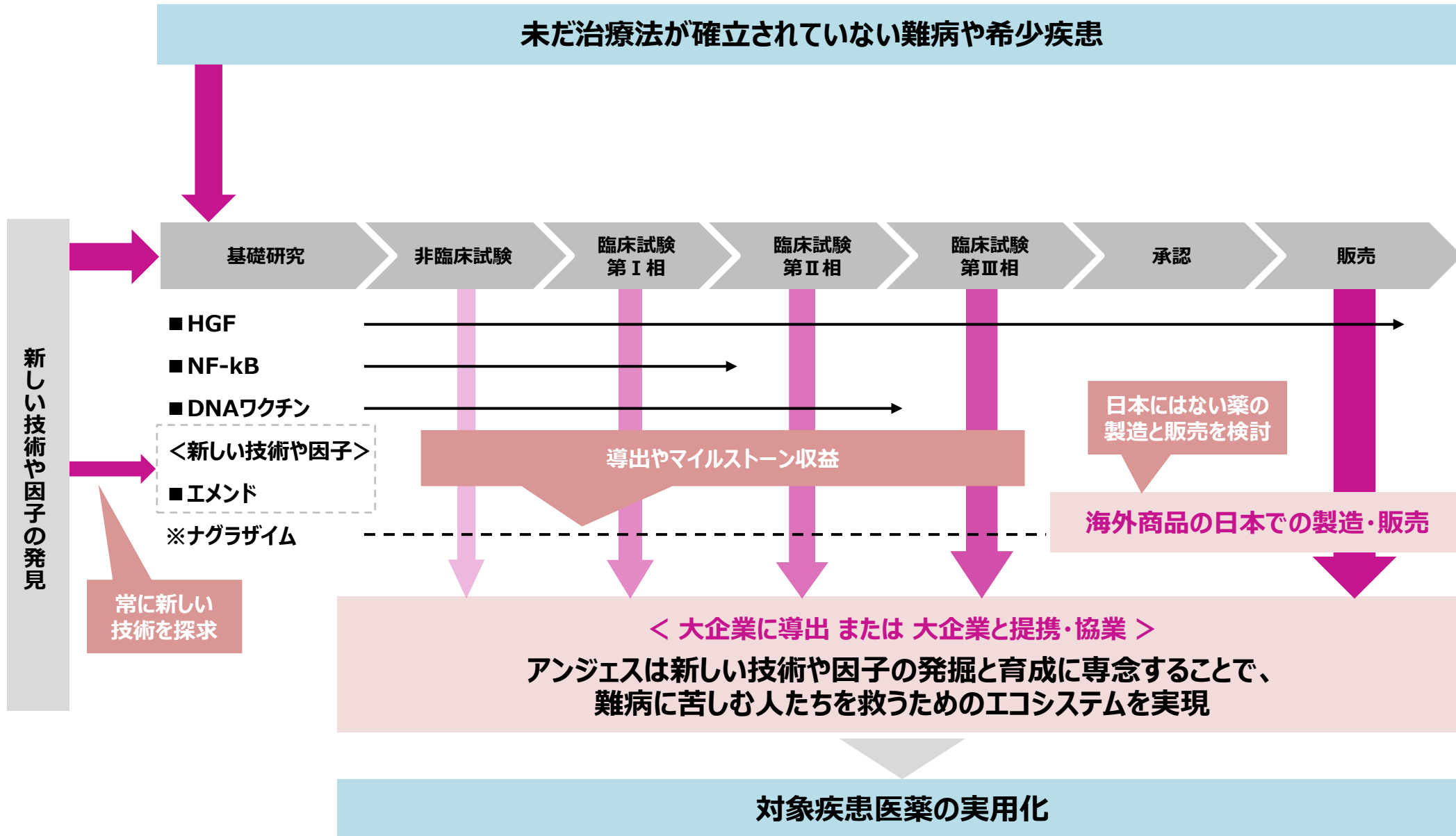


- ・2021年4月設立
- ・CReARIDと連携して
オプションスクリーニングを開始 (2021年7月)

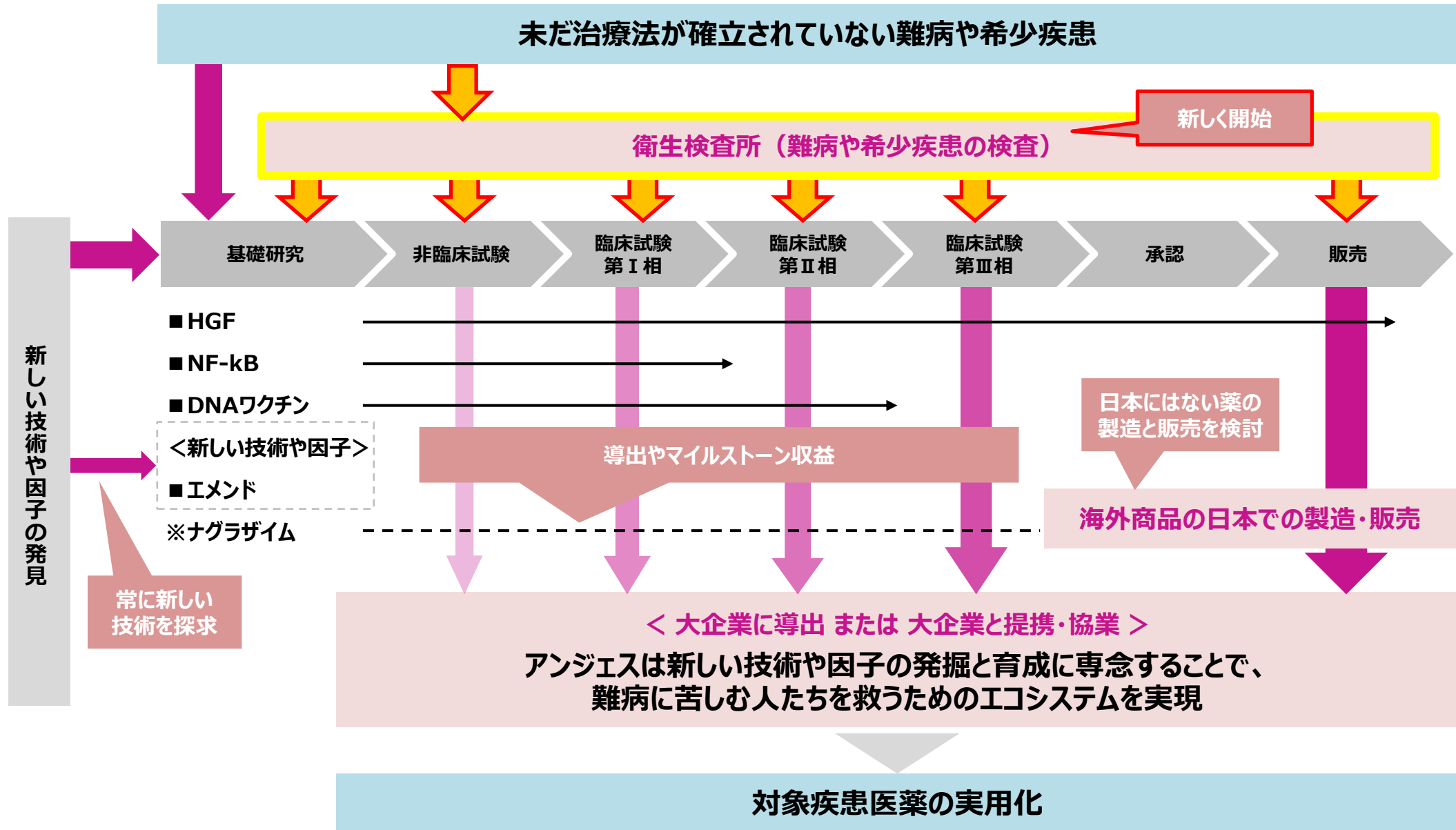
※CReARID :
希少疾患の医療と研究を推進する会

今までのアンジェス

未だ治療法が確立されていない難病や希少疾患



これからのアンジェスの事業全体像



衛生検査事業により期待される領域 -バイオマーカーを使用したコンパニオン診断-

■ バイオマーカー

ある疾患の有無、病状の変化や治療の効果の指標となる項目・生体内の物質のこと。

バイオマーカーとして使用されるものは、主に血圧、心拍数や心電図、血液中に測定されるタンパク質等の物質といった生体由来のデータとなります。

https://www.3d-gene.com/about/article/art_001.html

<https://www.pmda.go.jp/files/000155707.pdf>

■ コンパニオン診断

診断をすることにより、医薬品や治療が効かない人や副作用を持つ人を予め選別して、作用する人にだけ、投薬・治療をすることにより、

患者のQOLの向上をはかることを目的とした診断。その際に使用される薬がコンパニオン診断薬で、コンパニオン診断薬と治療薬は原則 1 : 1 で対応する。

https://www.3d-gene.com/about/bio/bio_003.html

<https://www.chugai-pharm.co.jp/ptn/bio/phc/phcp07.html>

<例：遺伝子Aの変異がある人に有効な治療薬を使う場合>



より効果的な診断・治療につながる

経営指標：プロジェクトの推進及び製品化



2018年

2019年

2020年

2021年

2022年

2023年

2024年

2025年

2019年
HGF遺伝子治療用製品を、
世界で初めてプラスミドDNAを用いた、
重症虚血肢潰瘍の改善を目的とした遺伝子治療薬として製品化

新規プロジェクト・製品

2020年～ ゲノム編集プラットフォーム技術取得

2020年～ DNAワクチン（新型コロナウイルス感染症）

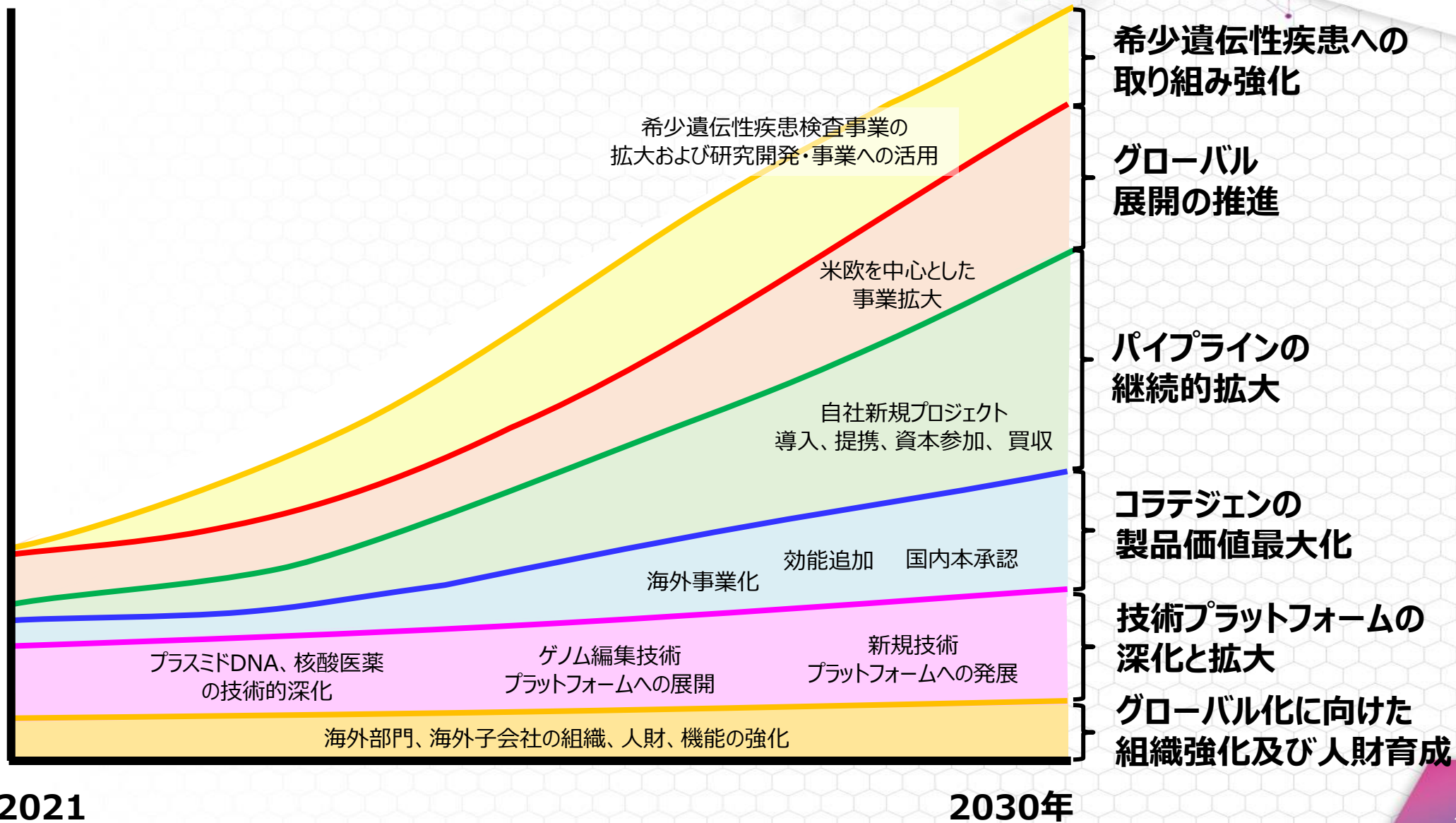
2018年～ Tie2受容体アゴニスト化合物 ※AV-001（新型コロナウイルス感染症及び急性呼吸窮迫症候群）

2015年～ DNAワクチン（高血圧）

2010年～ NF-κB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・安静時疼痛）

アンジェスの
バリュー



04

森下先生と山田社長によるお話

05

質疑応答

參考資料

HGF遺伝子治療用製品とは？

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。

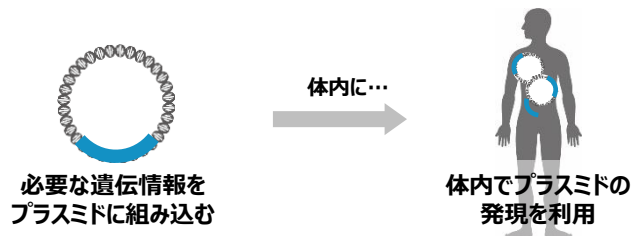
※「血管を新生する」とは、血管を新しく増やすこと。新生(新しく作る)していくことで、血管が再生されていく。

現在の遺伝子治療の3つの治療方法

プラスミドDNAを用いた
世界初となる
遺伝子治療用
製品

① プラスミドDNA

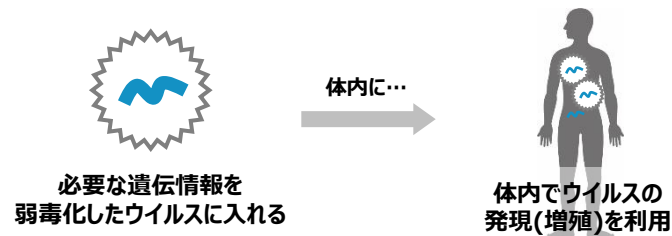
遺伝子組み換え操作のベクターとしてプラスミドを用いる



プラスミドは免疫原性が無く、
数週間で分解されて体内に残らないため、
反復投与することが可能。

② ウイルスベクター

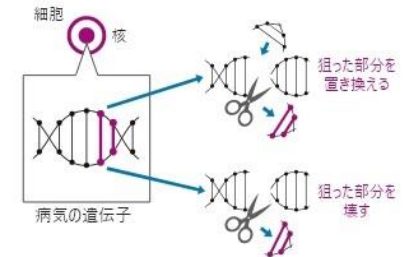
ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法



人に対して病気を起こさせることのない
無害なウイルスをベクターに用いて、
患者の体内で遺伝子を発現させる。

③ ゲノム編集

標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる



生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の
狙った場所を切断し、
正常な遺伝子に書き換える技術。

日本国内
初となる
遺伝子治療
用製品

2019年製品化
HGF
アンジェス株式会社
(日本)

遺伝子治療
世界初!

2012年製品化
(オランダ)

(まだ製品化されていない)

当社のHGF遺伝子治療用製品は、
1つの国内初と4つの世界初となる製品です。

① **国内初**の遺伝子治療用製品

② **世界初**のプラスミド（DNA分子）製品

※以下3機関の承認基準
・FDA（米国）
・EMA（欧州医薬品庁）
・厚生労働省（日本）

③ **世界初**のHGF実用化製品

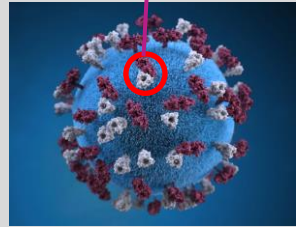
④ **世界初**の末梢血管を新生する治療用製品

⑤ **世界初**の循環器医療領域での治療用製品

* 2019年3月に条件及び期限付製造販売承認を取得した時点での情報です。

“新型コロナウイルス”ワクチン開発について

ウイルスとは？

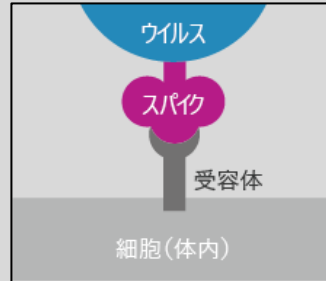


ウイルスイメージ

スパイク

感染の足掛かりとなるタンパク質

体内でウイルスと受容体が結合すると、ウイルスが細胞に侵入し、感染する



DNAワクチンとは？

スパイク

新型コロナと同じウイルスの配列をしたスパイクを作る。

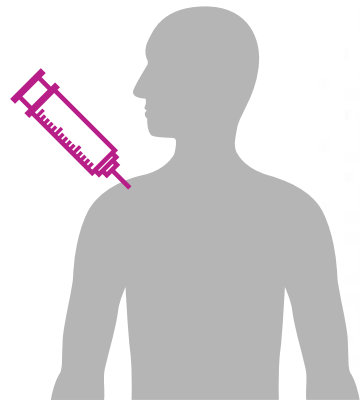
ワクチンのベースとなるDNA

プラスミド

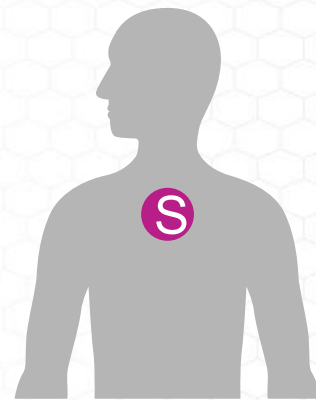
遺伝子の運び屋で、大腸菌で大量に作る事ができる。

中身が空っぽで無害なスパイクだけが付いているDNA。スパイクだけだと何の作用も働かない。

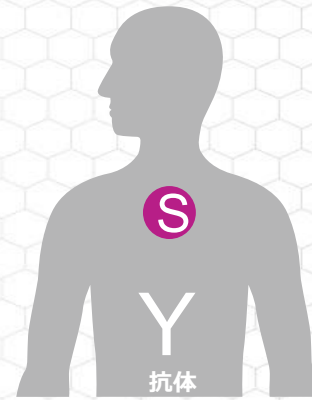
ワクチンの仕組み：スパイクだけを体内に発現させ抗体を作るためのもの



ワクチンを接種

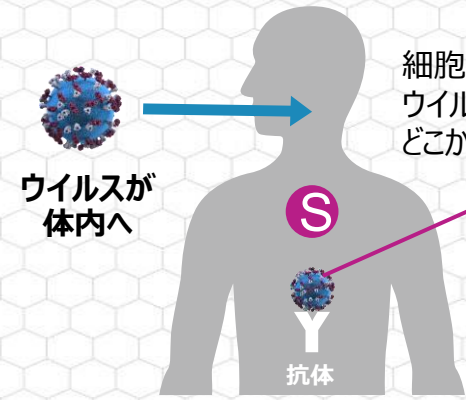


スパイクを発現



細胞が抗体を作る

無害のスパイクに対して、抗体ができるので抵抗力ができる



細胞の中に入らない限りウイルスは生き残らないので、どこかへ行ってしまふ

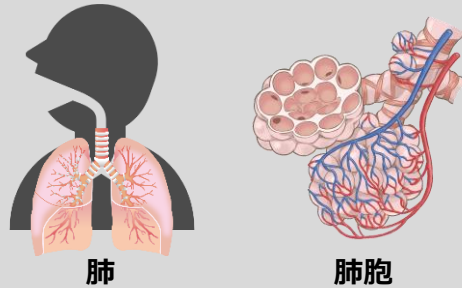
ウイルスのスパイクと抗体が結合するので、細胞の受容体と結合ができない

抗体があるので、ウイルスが体内に入ってきてても細胞に到着する前に抗体がウイルスを捕まえる。

“新型コロナウイルス”治療薬開発について

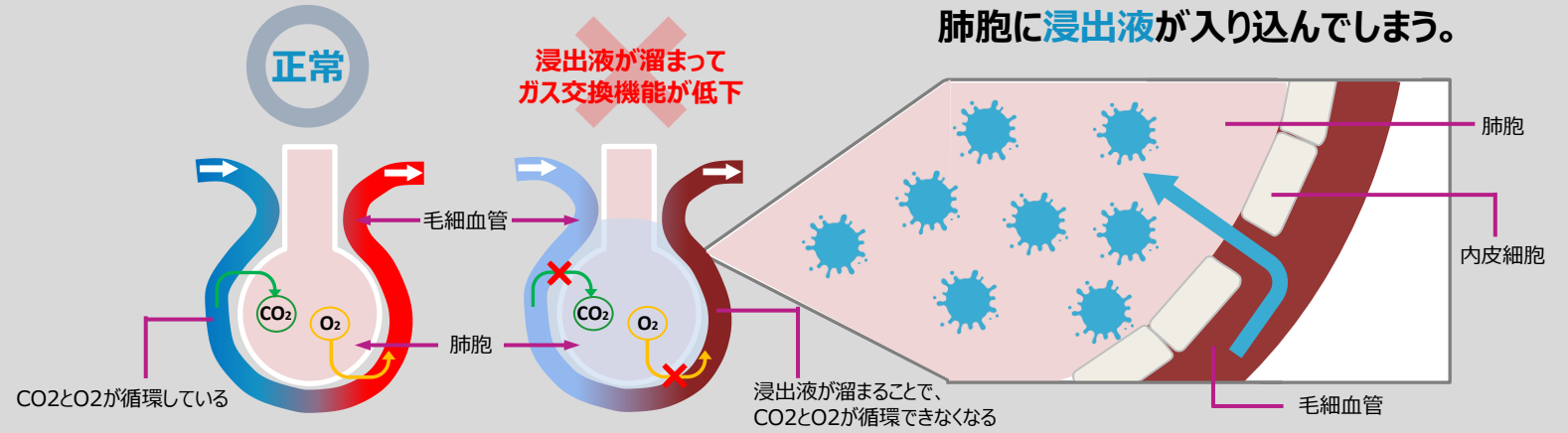
コロナウイルスによる急性肺障害とは？

肺の85%を占める肺胞では血液とガス交換を行っていて、肺胞でガス交換ができなくなってしまうと、呼吸が苦しくなってしまいます。



肺胞の拡大図

肺胞におけるガス交換の比較図

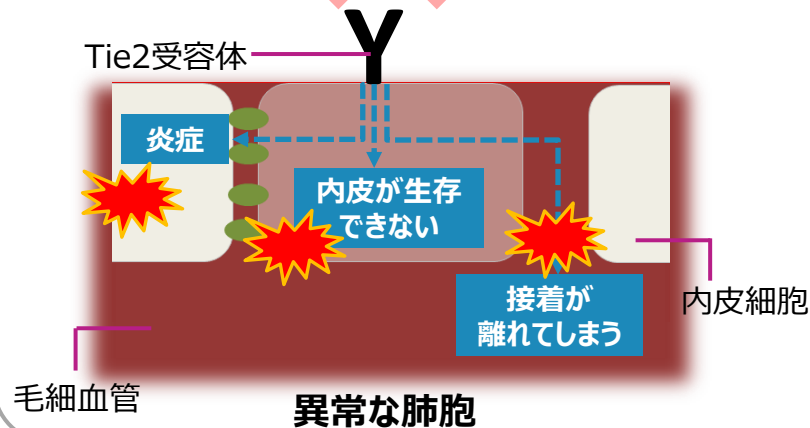


肺胞のさらなる拡大図

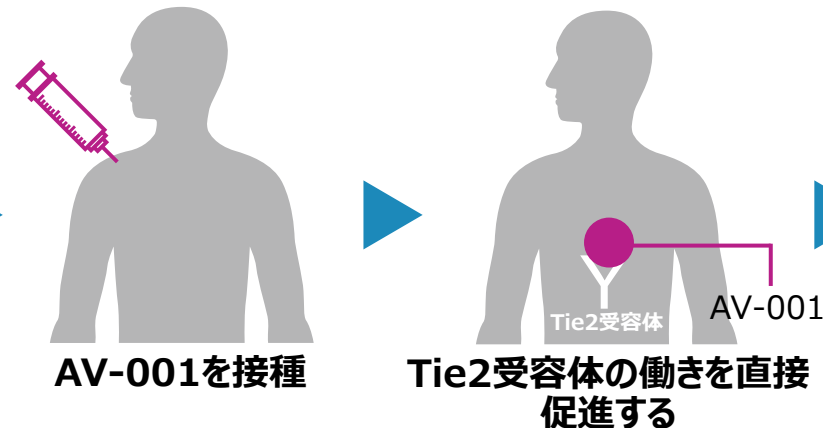
内皮細胞が離れてしまうことにより、肺胞に浸出液が入り込んでしまう。

AV-001のメカニズム（血管の生理機能の維持・回復）

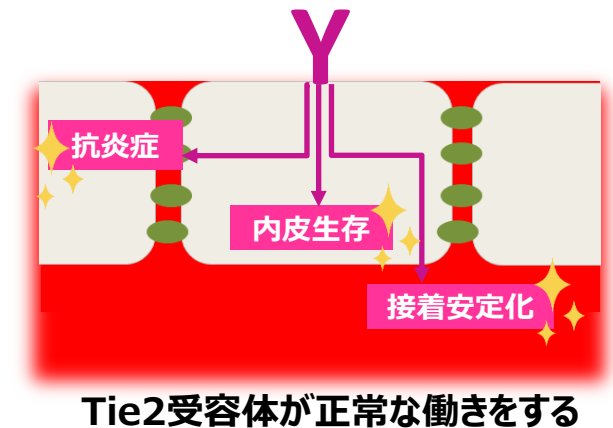
Tie2受容体の働きが抑制されることにより、内皮細胞が離れてしまい、肺胞に浸出液が入ってしまう



AV-001を投与することにより、Tie2受容体の働きを正常な状態に戻す



AV-001により、Tie2受容体の働きが正常になる



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。

3 すべての人に
健康と福祉を



保健【健康的な生活の確保】

世界中すべての人が適切な予防、そして治療が受けられるように、医療に関する研究開発への積極的な支援や、質が高く安価な医薬品が世界中に行き届くような体制を整えることが大切。

9 産業と技術革新の
基盤をつくらう



産業と技術革新の基盤をつくらう

強靱なインフラを整備し、包摂的で持続可能な産業化を推進するとともに、技術革新の拡大を図る

12 つくる責任
つかう責任



つくる責任 つかう責任

持続可能な消費と生産のパターンを確保する

17 パートナーシップで
目標を達成しよう



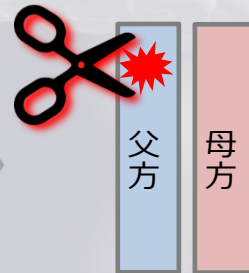
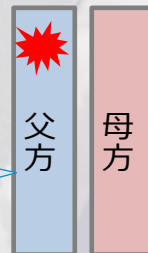
パートナーシップで目標を達成しよう

持続可能な開発に向けて実施手段を強化し、グローバル・パートナーシップを活性化する

Emendo Biotherapeuticsの子会社化による、 遺伝性希少疾患への挑戦！

Emendo Biotherapeuticsは、
独自のヌクレアーゼを安全かつ効果的な遺伝子編集を可能にする高精度に最適化することで、
対をなす対立遺伝子の片方を傷つけることなく、もう一方のみをターゲットに編集ができることから、
片方の遺伝子だけに異常がある**数多くの優性疾患（遺伝病）**を初めて治療することが可能になります。

ゲノム編集によって異常な遺伝子を
編集しようとする、
もう片方の正常な遺伝子（対立遺伝子）
まで編集してしまう可能性があります。



Emendo Biotherapeuticsでは、
対立遺伝子のわずかな違いを
確実に識別できる
高精度なゲノム編集を可能にした。

会社概要

<https://www.anges.co.jp/company/#profile>

企業理念

<https://www.anges.co.jp/company/#philosophy>

当社のビジネスモデル

<https://www.anges.co.jp/company/#model>

沿革

<https://www.anges.co.jp/company/#history>

提携状況

<https://www.anges.co.jp/company/#alliance>

HGF遺伝子治療用製品関連

- 先進国で承認された遺伝子治療製品 (下記リンク先のP.48)
https://www.anges.co.jp/pdf_ir/public/100540.pdf

慢性動脈閉塞症と重症虚血肢の関係

- 重症虚血肢 (CLI) とは / 末梢動脈疾患の図 / 日本と米国の対象疾患の範囲の違い
- グローバル バスキュラー ガイドライン(Global Vascular Guidelines (GVG™))とは?
<https://www.anges.co.jp/blog/detail.php?p=100346>

NF-κBデコイオリゴDNA関連

<https://www.anges.co.jp/pipeline/#nfk>

高血圧DNAワクチン関連

https://www.anges.co.jp/_pdf/about_vaccine1.pdf

医薬品の開発と承認制度

- 医薬品の開発、条件及び期限付き承認制度、FDAの承認制度（下記リンク先のP.65～68）

https://www.anges.co.jp/ir/_pdf/2020_event200917_q7i6.pdf

ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」

- ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」に関する事業継承物語

https://www.anges.co.jp/faq/_pdf/story_of_naglazyme.pdf

「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



アンジェス ホームページ
<https://www.anges.co.jp>