



# AnGes

**アンジェス株式会社**  
**2020年12月期 第2四半期決算説明会**

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～

AnGes

2020年8月3日

- ◆ 本資料に記載されている業績予想、将来見通し等は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が判断した予想・見通しであり、潜在的なリスクや不確実性が含まれています。
- ◆ それらのリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの取得承認、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。
- ◆ 様々な要因の変化により、実際の業績は記述している予想とは大きく異なる結果となる可能性があります。



# アジェンダ

- 2020年12月期 第2四半期決算サマリー
- 開発パイプライン 進捗報告
- アライアンスの進捗報告
- 質疑応答

# 01

## 2020年12月期 第2四半期決算サマリー

# 2020年度第2四半期 連結業績ハイライト

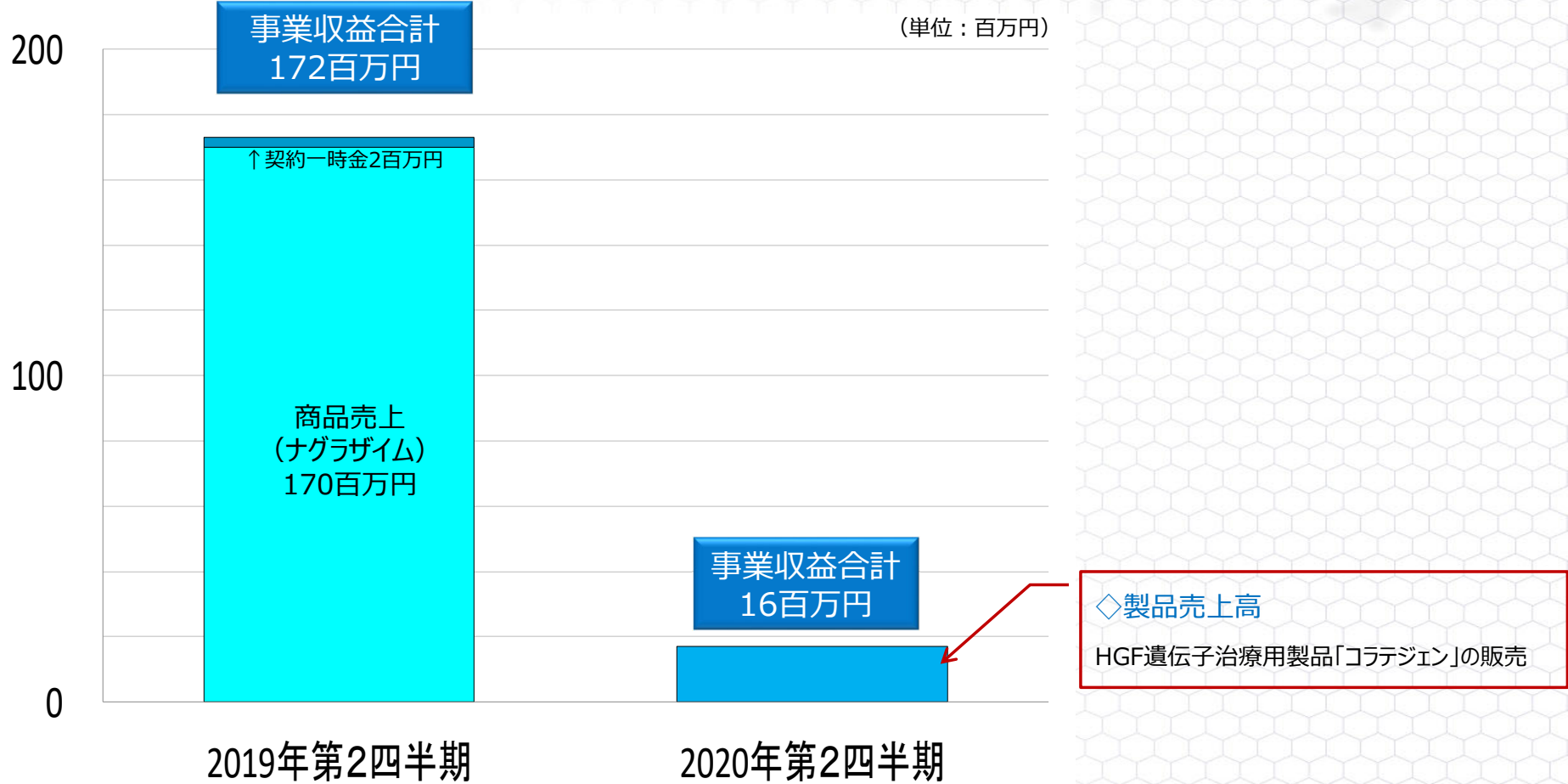


(単位：百万円)	2019年度第2四半期	2020年度第2四半期	増減額	増減の主な要因
事業収益	172	16	△155	◇事業収益（前年比9.8%） コラテジエン売上 16百万（前年比-） ナグラザイムは2019年6月で販売終了
事業費用	1,882	1,783	△99	◇事業費用（前年比95.7%） 売上原価9百万（前年83百万） ・ナグラザイム販売終了による売上原価の減少 研究開発費1,104百万（前年1,130百万） ・研究材料費減少、外注費増加 販管費668百万（前年668百万） ・コラテジエン販売に伴う費用増加の一方コロナの感染拡大に伴う旅費交通費等活動費の減少もあり前年並み
営業損失（△）	△1,709	△1,766	△56	
営業外収支※	△24	△130	△105	◇営業外収支 ・為替差益36百万円（前年7百万） ・株式交付費△58百万（前年△35百万） ・Emendo持分法投資損失△120百万円
経常損失（△）	△1,733	△1,896	△162	
特別利益/損失および法人税等※	△240	+0	+240	◇特別利益/特別損失および法人税等 ・新株予約権戻入益5百万円（前年8百万） ・投資有価証券評価損-100円（前年△243百万）
当期純損失（△）	△1,973	△1,896	+77	

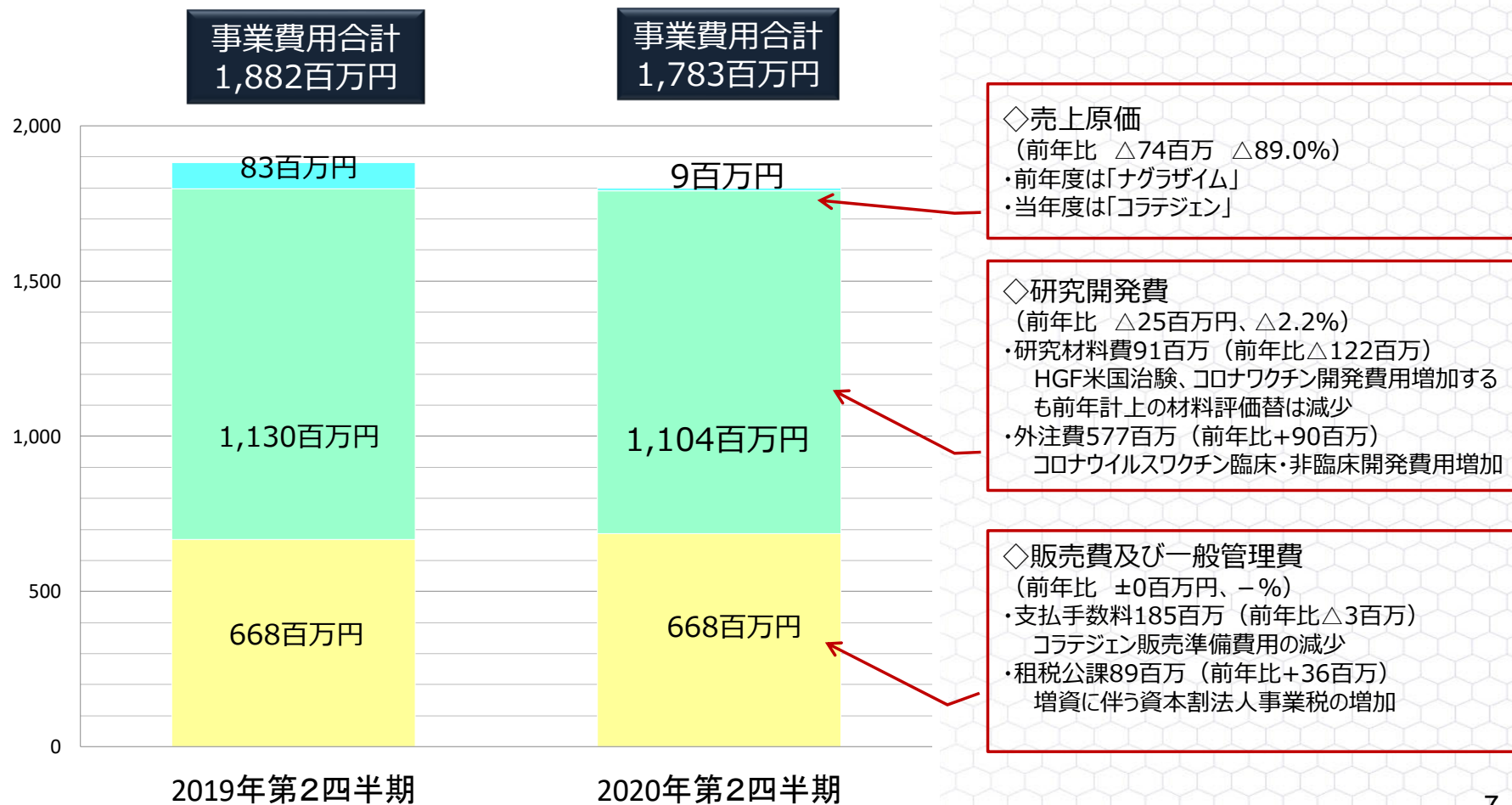
※：△は損失



# 事業収益の内容



# 事業費用の内容



# 連結貸借対照表・キャッシュ・フロー ハイライト

(貸借対照表)

(単位：百万円)

	2019年12月末	2020年6月末	増減額
流動資産	10,992	15,200	+4,208
現金及び預金	10,040	13,552	+3,512
固定資産	1,532	6,898	+5,365
総資産	12,524	22,099	+9,574
負債合計	469	437	△32
純資産	12,055	21,662	+9,606

(キャッシュ・フロー)

項目	金額	主な増減高
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 2,412	税金調整前当期純損失 △1,890
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 5,525	Emendoへの投資 △5,441
財務活動によるキャッシュ・フロー	11,414	新株予約権による資金調達（フィリップ証券による）
現金及び預金に係る換算調整	35	
現金及び預金の増減額	3,512	



# 2020年度通期業績見通し



(単位：百万円)

	事業収益	営業利益	経常利益	当期純利益
2020年度通期 (予想)	-	-	-	-
2019年度通期 (実績)	326	△3,270	△3,293	△3,750

- 今後の見通しにつきましては、新型コロナウイルス感染症向けワクチン開発費用の見通しが不透明なこと  
また、新規シーズの導入の可能性など、現時点では業績に影響を与える未確定な要素が多いことから、  
適正かつ合理的な数値の算出が困難であると考えており、通期の業績予想は開示を見合わせます。  
なお、今後の事業の進捗を踏まえ、合理的な算出が可能になり次第速やかに開示いたします。

# 02

## 開発パイプライン 進捗報告



# 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	適応症状	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	市販
							第 I 相	第 II 相						
HGF遺伝子治療製品 (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	適応症状	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)			承認・審査	承認	販売	市販
							第 I 相	第 II 相	第 III 相				
HGF遺伝子治療製品 (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	▶	▶	▶	▶	▶	▶			
	米国	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶			
	イスラエル	Kamada		慢性動脈閉塞症	▶					▶			
NF-kBデコイオリゴDNA	国内外	-	AMG0101 注射剤	腰痛症	▶	▶	▶	▶	▶	▶			
DNAワクチン	海外	-	AMG0201 注射剤	高血圧	▶	▶	▶	▶	▶	▶			
<b>NEW</b> DNAワクチン	日本	-		新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	▶	▶	▶	▶	▶	▶			
Tie2受容体 アゴニスト化合物	海外	Vasomune ( )		急性呼吸 窮迫症候群	▶	▶	▶	▶	▶	▶			

※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。



# 新型コロナウイルスDNAワクチン 開発状況

感染の足掛かりとなるタンパク質である、スパイクをコードしたプラスミドDNAワクチン。

▶ 新型コロナウイルス

NEW

# HGFでプラスミドDNAの実績を元に、 今回新型コロナウイルスに対するDNAワクチン開発を進めています

プラスミドDNA  
を用いた  
世界初となる  
遺伝子治療  
製品

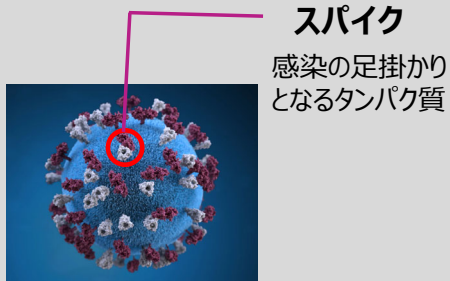
日本国内  
初となる  
遺伝子治療  
製品

①プラスミド	②ウイルスベクター	③ゲノム編集
<p>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</p> <p>プラスミド DNA + 遺伝子 → 大腸菌</p>	<p>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</p> <p>ウイルス (無害) → 体内に...</p>	<p>標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる</p> <p>細胞 標的ゲノム 病気の遺伝子 狙った部分を置き換える 狙った部分を壊す</p>
<p>大腸菌などの細菌に存在する環状のプラスミドDNAに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短時間で大量にプラスミドを作ることが可能。</p>	<p>人に対して病気を起こさせることのない直接感染しないウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。 *ベクターとは、 遺伝子を核の中に導入するための道具</p>	<p>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。</p>
<p>2019年製品化 <b>HGF</b> <b>アンジェス株式会社</b> (日本)</p>	<p>2012年製品化 (オランダ) 遺伝子治療 世界初!</p>	<p>(まだ製品化されていない)</p>

【遺伝子治療薬の3つの治療方法】※自社作成資料

# “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？

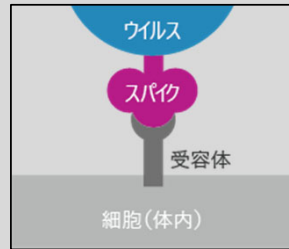


ウイルスイメージ

### 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。

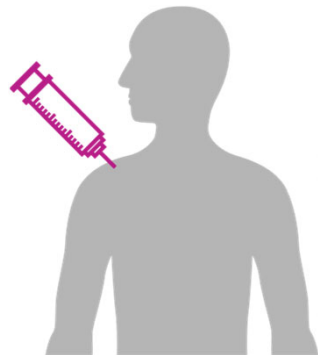
ワクチンのベースとなるDNA

### 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。

中身が空っぽで直接感染しない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。

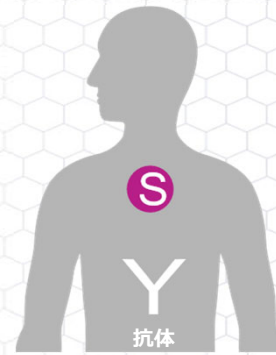
## ワクチンの仕組み：スパイクだけを体内に発現させ抗体を作るためのもの



ワクチンを接種

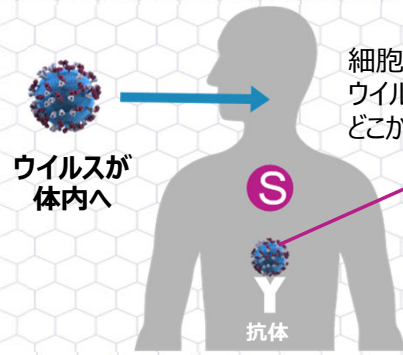


スパイクを発現



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DNAワクチン



対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	第 I / II 相臨床試験開始 (2020年6月30日) 

2020年3月～

2020年5月

2020年6月

ワクチン開発  
プロジェクト発表

ワクチンの原薬完成  
非臨床試験開始

AMED公募に採択

非臨床試験での  
抗体価上昇確認

第 I / II 相  
臨床試験開始

2020年6月：第 I / II 相臨床試験開始。  
 2020年5月：日本医療研究開発機構(AMED)が公募する  
 「新型コロナウイルス感染症(COVID-19)に対するワクチン開発」への採択。  
 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。

# 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

# HGF遺伝子治療用製品（慢性動脈閉塞症の潰瘍、国内）

対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍
開発状況	2019年9月10日より 田辺三菱製薬より販売開始。 市販後調査実施中。



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。

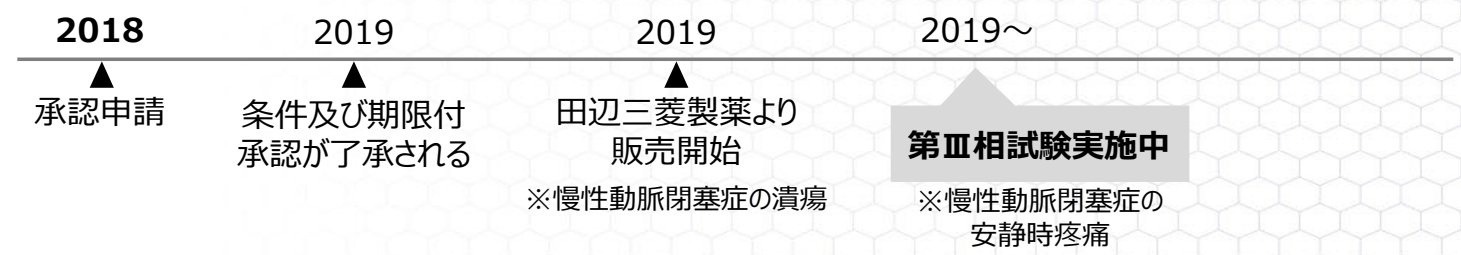
2018年1月：厚生労働省に対し製造販売承認申請。

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。



# HGF遺伝子治療用製品（慢性動脈閉塞症の安静時疼痛、国内）

対象疾患	慢性動脈閉塞症の安静時疼痛
開発状況	第Ⅲ相臨床試験を実施中（2019年10月～）

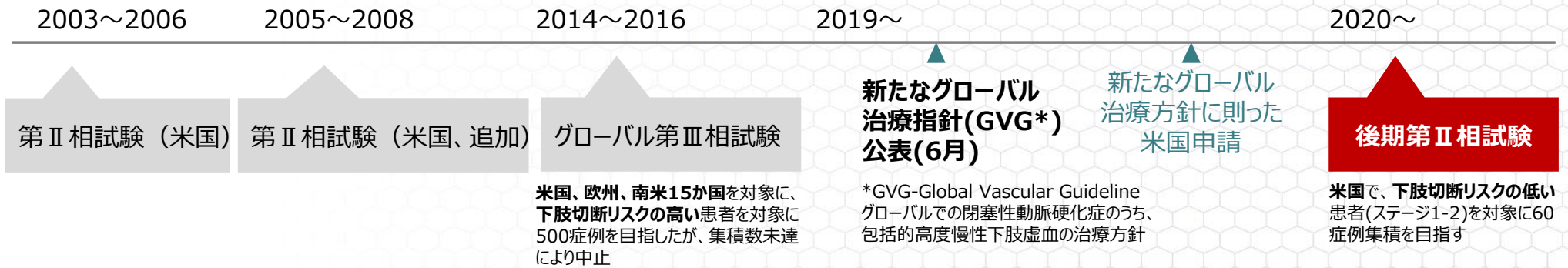


2019年10月：本承認に向け、約2年で約40の症例数の第Ⅲ相臨床試験を開始。

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。

# HGF遺伝子治療用製品 (慢性動脈閉塞症の潰瘍、海外)

対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍
開発状況	米国での臨床試験を実施中 (2020年2月～)



**2020年：米国での後期第Ⅱ相試験を開始**  
 現在、日本より市場規模が大きい米国において、新たなガイドライン (Global Vascular Guideline) に沿った治験を実施中。



**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。現在、Kamada社が申請準備中。**



**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。**



# NF- $\kappa$ B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- $\kappa$ Bに対する特異的な阻害剤。  
NF- $\kappa$ B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

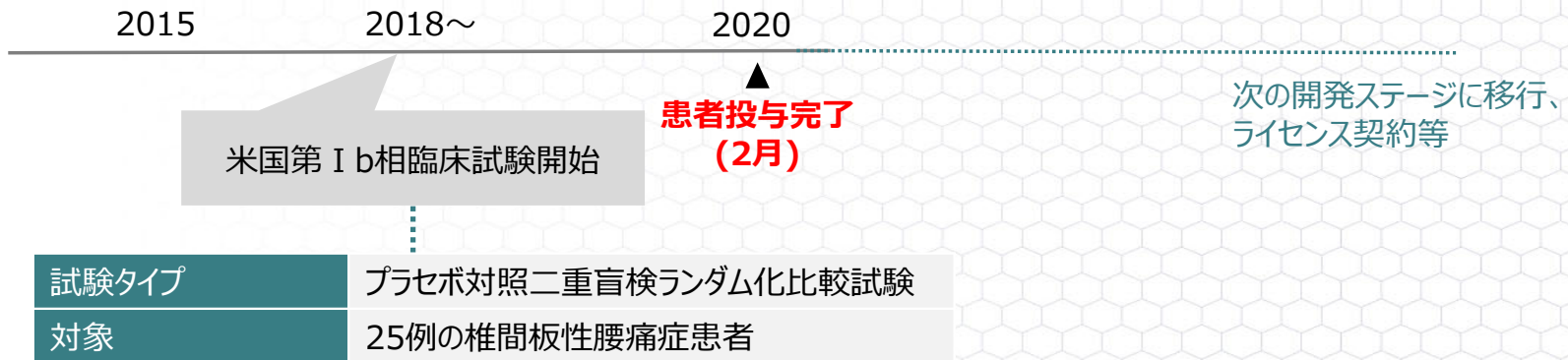
次世代型デコイを開発中。

▶ キメラデコイ



# NF-κBデコイオリゴDNA（椎間板性腰痛症治療薬）

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）



**2020年2月：25例の患者投与が完了。結果公表は、2020年第4四半期予定**  
 今後、投与された患者を二重盲検で約6ヶ月間安全性と有効性を評価、その後6ヶ月の非盲検観察期間で長期安定性、忍容性および有効性を評価

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、既存のワクチンに比べ様々な  
長所を持つ。潜在的な市場規模は大きい。

▶ 高血圧

# 高血圧DNAワクチンについて

## アンジオテンシン IIとは？

血圧を上げる働きを持つ体内物質



アンジオテンシン II

アンジオテンシン II は、体内で作られる物質のため、免疫系に外敵と認識されず、抗体が作られにくい・・・

## 高血圧DNAワクチンとは？

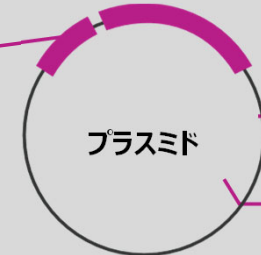
アンジオテンシン II の顔(免疫系からの認識されやすさ)を変え、免疫系に抗原と認識させる

疑似アンジオテンシン II  
(アンジオテンシン II と別の物質を合体させたタンパク質)

アンジオテンシン II  
タンパク質



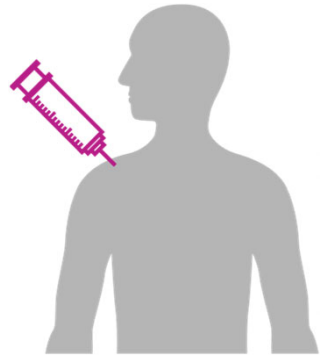
ワクチンのベースとなるDNA



プラスミド

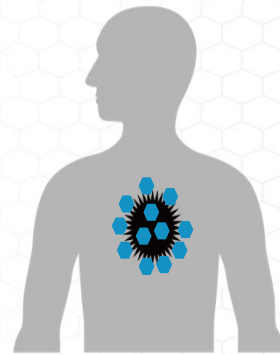
遺伝子の運び屋で、大腸菌で大量に作る事ができる。

ワクチンの仕組み：疑似アンジオテンシン II を体内に発現させ抗体を作るためのもの

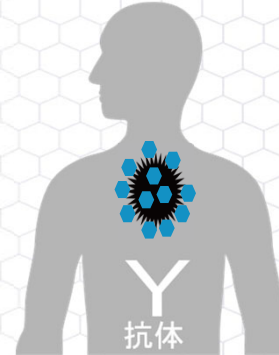


### ワクチンを接種

アンジオテンシン II と別の物質が一体となったタンパク質を作り出す遺伝子をワクチンとして体内に投与

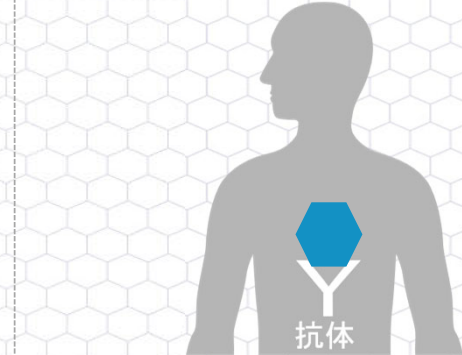


### タンパク質を発現 (アンジオテンシン II と別の物質が一体となったもの)



### 細胞が抗体を作る

免疫細胞がタンパク質を認識し、アンジオテンシン II に対する抗体を産生

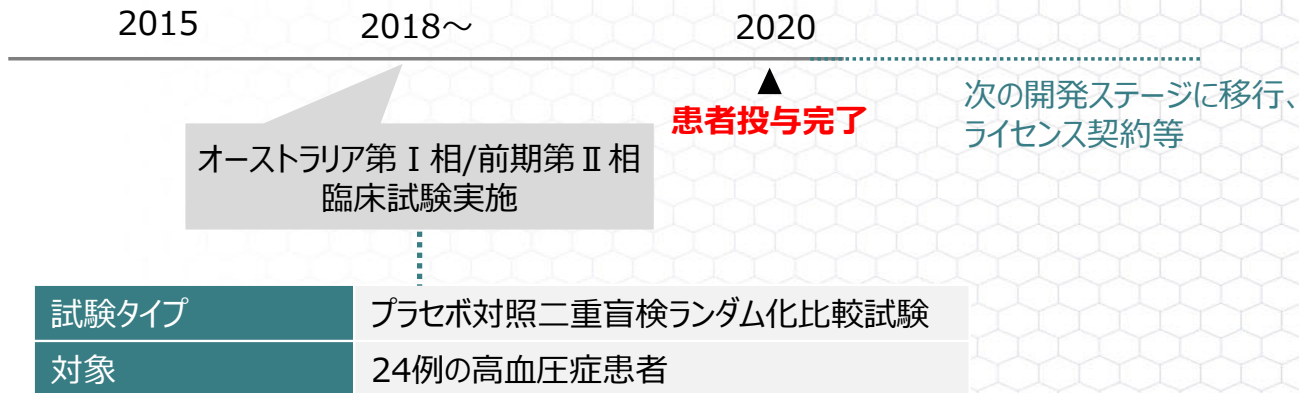


### 抗体が (体内に元々ある)アンジオテンシン II と結合し、 アンジオテンシン II の機能を弱める。



# 高血圧DNAワクチン

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)



**2020年3月：第 I / 前期第 II 相臨床試験の患者投与が完了。結果の公表は第4四半期予定**  
 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。

# 03

## アライアンスの進捗報告



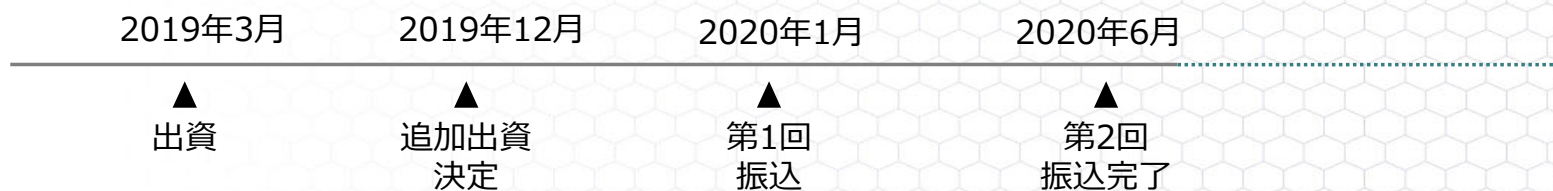
# ゲノム編集 状況



## ゲノム編集



対象事業	ゲノム編集
提携会社	Emendo Biotherapeutics 社（米国）
提携会社事業内容	重篤な疾患や障害の原因となる細胞の遺伝子異変を修飾、除去することができるゲノム編集技術の開発
出資状況	2020年6月に払い込み完了。当社持株比率が約32%(完全希薄化後)



# マイクロバイオーム事業 状況

## マイクロバイオーーム事業

対象事業	マイクロバイオーーム事業
提携会社	MyBiotics Pharma 社（イスラエル）
提携会社事業内容	マイクロバイオーーム研究開発
提携内容	資本提携

2018年7月

2020年1月

▲  
資本提携

EIC Accelerator Pilotの  
資金援助先に選抜

### 2020年1月

#### EIC Accelerator Pilotの資金援助先に選抜

マイバイオテクス社が申請していた、あらゆる民族、年齢性別関係なく、さらに病気や慢性疾患の治癒や健康サプリや薬品としての目的など、世界初となる1人1人にパーソナライズされた腸内細菌を生成することを可能にする『MB Select』というプロジェクトが、専門家の厳正な審査を経て評価され、約200万ユーロの資金援助を受けることになりました。



# (がん) 診断事業 状況

## (がん) 診断事業

対象事業	(がん) 診断事業
提携会社	Barcode Diagnostics社 (イスラエル)
提携会社事業内容	個々のがん患者に最も有効な抗がん剤を選択するための意思決定ツールとしてのバーコードナノパーティクルによる診断技術の提供
提携内容	資本提携

2019年8月

▲  
資本提携

2020年2月～

公益財団法人がん研究会と  
共同研究を開始

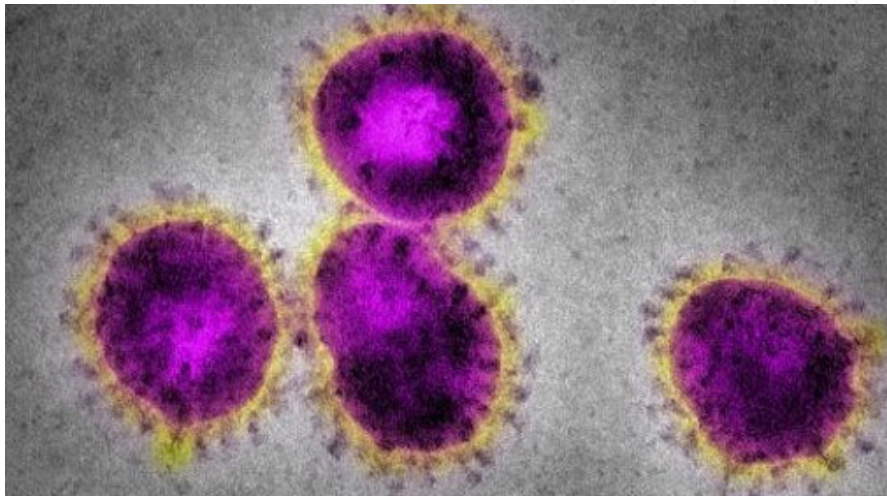
**2020年2月：**

**診断技術の早期の実用化に向け、公益財団法人がん研究会と共同開発を開始**

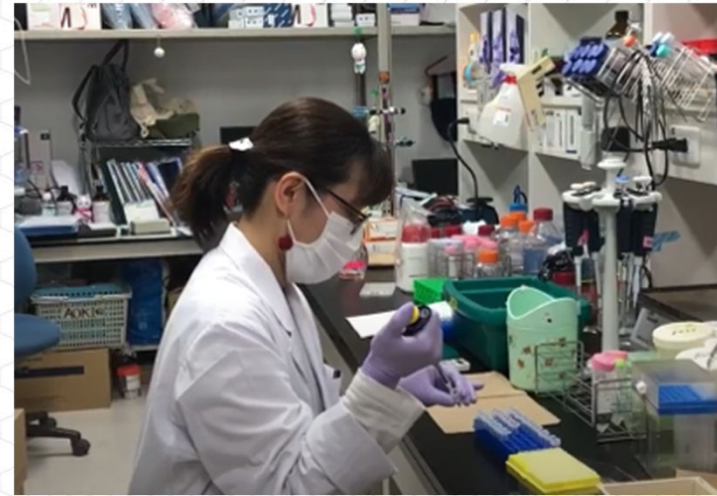
本共同研究では、がん研究会の持つ最先端の知見を活用し、Barcode社の診断技術の評価を行うとともに、実用化に向けた実験的検討を進めることで、Barcodeの診断技術をいち早くがん治療に役立てることができるよう協力していく。

## まずは、新型コロナウイルスDNAワクチン開発に注力

新型コロナウイルスの感染拡大を1日でも早く収束させるため、  
この国難ともいう状況の中、  
日本国内、そして日本以外の国々にも貢献するべく、  
DNAワクチンの実用化に向け、  
全社を上げて尽力してまいります。



WHOホームページより引用



大阪大学にて研究



## 「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>

# 04

## 質疑応答



# 05

## 參考資料





# 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遺伝子治療薬	慢性動脈閉塞症	日本	田辺三菱製薬
		米国	
		イスラエル	KAMADA High Quality Pharmaceuticals
NF-kB デコイオリゴDNA	皮膚疾患全般	全世界	シオノギ製薬

## <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	BioLeaders バイオリダーズ（韓国、導入元）                  森下仁丹（再許諾先）

## <提携>

プロジェクト名	提携内容	提携先
ゲノム編集	資本提携	EMENDO BIOTHERAPEUTICS エメンド（アメリカ）
マイクロバイオーム-常在菌の培養、製剤化		MYBIOTICS マイバイオティクス（イスラエル）
抗がん剤選択のための診断技術		BARCODE DIAGNOSTICS Personalized Cancer Medicine バーコード（イスラエル）
急性呼吸窮迫症候群（ARDS）	共同開発	Vasomune Therapeutics バソミュン（カナダ）
DNAワクチンその他	資本提携	BrickellBio ブリッケル（アメリカ） （Vicalと合併）
新型コロナウイルス（COVID-19） 感染症に対するDNAワクチン	共同開発	大阪大学、タカラバイオ株式会社 など