



アンジェス株式会社
証券コード 4563

ANGES REPORT

アンジェス通信

第19期 2017.1.1-2017.12.31



革新的な医薬品を、
いち早くお届けするために。

日本初の遺伝子治療薬誕生に向けて
——「HGF 遺伝子治療薬」の承認を申請いたしました。

詳細は中面をご覧ください





HGF遺伝子治療薬 厚生労働省に対し製造販売承認を申請

代表取締役社長 山田 英

HGF遺伝子治療薬 【重症虚血肢】

2018年1月承認申請、 承認されれば日本初の 遺伝子治療薬誕生

当社にとりまして、2018年1月22日は記念すべき日となりました。創業以来、主力プロジェクトとして重症虚血肢を対象にした「HGF遺伝子治療薬」の開発を進めてまいりましたが、同日、厚生労働省に対し再生医療等製品^{*1}の製造販売承認申請を行いました。承認されれば本剤は国内で初の遺伝子治療薬となります。日本における遺伝子治療薬実用化の扉が開きつつあるのも、ひとえに株主の皆様のご理解の賜物と考えております。長年のご支援に深く

感謝いたします。

当社では、2017年8月に重症虚血肢を対象とした医師主導型臨床研究について目標としていた6例目の観察期間が終了したことから、同年秋での国内承認申請を目指してまいりましたが、承認審査機関(PMDA)との事前面談で追加の資料を求められたため予定が遅れることとなりました。株主の皆様には、多大なご心配・ご懸念を招きましたことをお詫び申し上げますとともに、改めて株主の皆様のご支援に深く感謝する次第です。

重症虚血肢の治療に 画期的な選択肢を提供

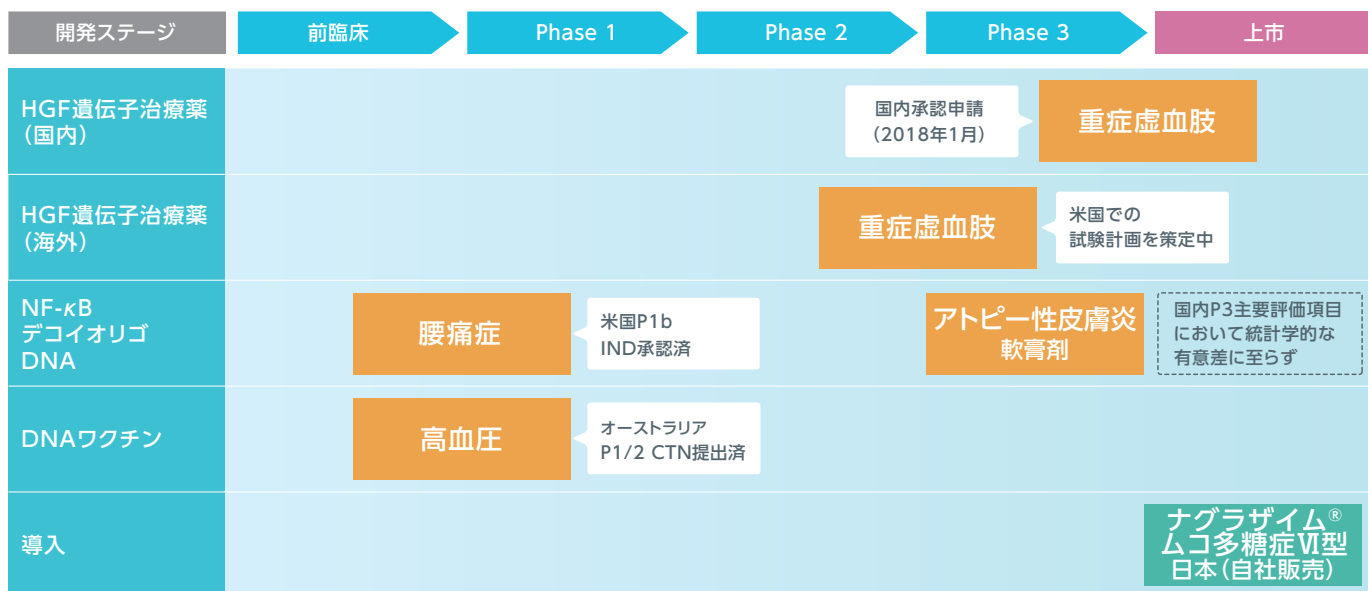
臓器の形成や再生に関与する肝細胞増殖因子HGF (Hepatocyte

Growth Factor) は、1984年に日本で発見されたものです。大阪大学の森下竜一教授らの研究チームが、HGFに血管の新生を促す作用があることを発見しました。当社はこの技術をもとに、世界初の「HGF遺伝子治療薬」を創ることを目的に1999年に創業いたしました。

HGFは、血管が詰まることで血流が悪くなり、体の組織へ血液を十分に供給できなくなっている虚血性疾患に対し、血管の新生を促して虚血状態を改善する可能性があることから、その研究開発に注力してまいりました。その最初の対象疾患とした選んだのが、重症虚血肢(閉塞性動脈硬化性及びバージャー病)です。この疾患は糖尿病などによる動脈硬化が原因で足の動脈が閉塞し、

臨床開発ステージにある重点プロジェクトの状況

■ 自社オリジン開発品 ■ 導入開発品



血液がうまく届かず組織が壊死して、最終的には足を切断しなくてはならないもの。カテーテルや外科的なバイパス手術が困難な患者さんにはこれまでは有効な治療手段がありませんでしたが、「HGF遺伝子治療薬」はこれらの患者さんに新たな治療手段を提供する可能性があります。

10年の歳月を経て 念願の製品化ステージへ

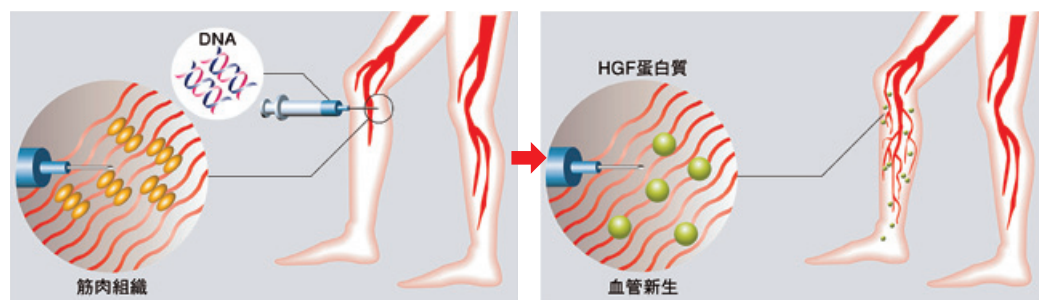
当社は「HGF遺伝子治療薬」の開発を、国産遺伝子治療薬として日本で先行して進めてきました。2007年までに実施した第3相臨床試験において有効性が示されたことから、2008年3月に国内で製造販売承認申請を行いました。さらなる臨床

データの集積が必要との結論に至り、2010年9月に承認申請を取り下げました。その後、再生医療分野の条件及び期限付き承認制度^{*2}が国内で導入されたことから、この制度の下で承認獲得を目指してまいりました。2014年10月からは大阪大学医学部附属病院が主導し、先進医療B制度^{*3}による医師主導型臨床研究を開始。2017年8月には目標症例数である6例目の観察期間が終了し、申請が可能な結果を得られたことから、このたびの承認申請に至った次第です。前回の承認申請から10年という長い歳月が経過してしまいましたが、当社の遺伝子治療薬開発は研究開発ステージからついに製品化ステージへ進みつつあります。現在、審査手続きが行われておりま

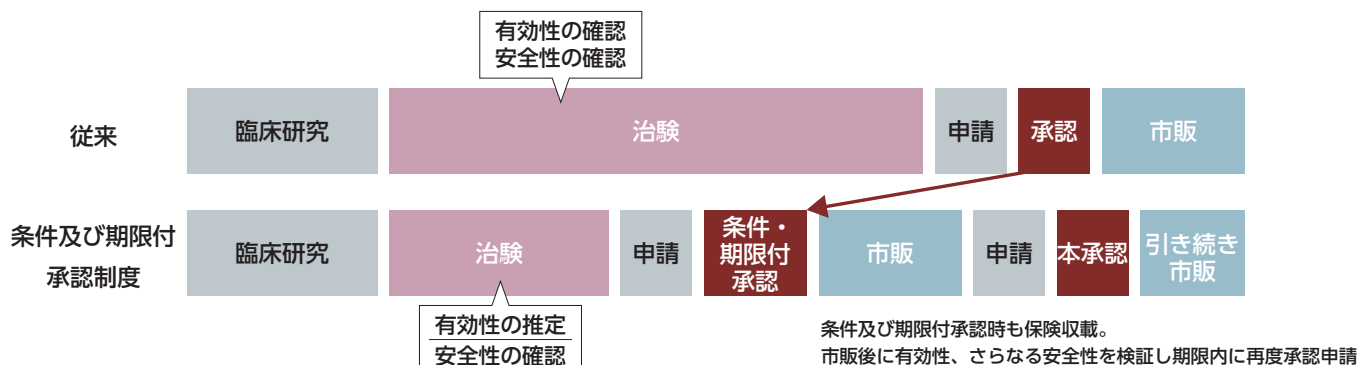
すが、一般的に申請から承認まで一年程度といわれていることから、2019年における承認を見込んでおります。なお、当社は重症虚血肢を含む末梢性血管を対象とした「HGF遺伝子治療薬」の販売に関し、田辺三菱製薬株式会社と国内及び米国における独占的販売契約を締結しております。本契約に基づき、国内で承認(条件及び期限付き承認を含む)が得られた場合には、同社が販売を担当いたします。

本剤の海外における開発についてでございますが、米国における重症虚血肢の潜在患者数は日本に比べはるかに多く、当社といたしましても一日も早く市場に参入することを目指し、当初計画よりも小規模・短期間なものとなる試験計画を策定中です。

HGF遺伝子治療薬による 血管新生（重症虚血肢） イメージ



※2 条件及び期限付き承認制度



NF- κ BデコイオリゴDNA 【椎間板性腰痛症】

大きな市場を有する米国で 第1相臨床試験を開始へ

人工的に作成した核酸によって遺伝子の働きを制御する核酸医薬は、次世代の医薬品として期待が高まっています。当社が開発を進めている「NF- κ BデコイオリゴDNA」（以下、「NF- κ Bデコイ」）はその一つです。NF- κ Bは、生体内で免疫・炎症反応を担う遺伝子の発現を調節する転写因子と呼ばれるタンパク質です。「NF- κ Bデコイ」には細胞内でNF- κ Bの“おとり”となって転写因子と結合することでNF- κ Bの働きを抑える働きがあることから、過剰な炎症や免疫反応を原因とする疾患に有効な治療薬となる可能性があります。

椎間板性腰痛症患者は世界的に非常に多い反面、有効な治療は限られています。当社はこの疾患を対象とした「NF- κ Bデコイ」の開発を、米国で先行して行っています。2017年4月に米国の規制当局である食品医薬品局（FDA）に申請していた新薬臨床試験開始届け（IND）

が承認、準備が完了しておりますので、対象となる患者さんが特定され次第、投与を開始してまいります。

DNAワクチン 【高血圧】

オーストラリアでの 臨床試験開始を目指す

当社では、遺伝子治療薬、核酸医薬に続く第3の事業として、DNAワクチンの研究・開発を本格化させており、最初のDNAワクチンを用いた治療薬として、市場規模が大きく事業性も高い「高血圧DNAワクチン」の開発を進めています。

この「高血圧DNAワクチン」は、血圧の上昇に関わる物質であるアンジオテンシンⅡを標的としたもので、長期間にわたって安定的な降圧作用を発揮することが期待されていることから患者さんの利便性が大きく向上すると考えられます。

2017年7月にオーストラリアの規制当局である薬品・医薬品行政局（TGA）に臨床試験届け（CTN）を提出、2018年内に第1/2相臨床試験の開始を実現したいと考えております。

株主の皆様へ

当社は2018年1月、念願であった「HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）」の製造販売承認申請を行いました。他の主力事業におきましても、実用化に向けた開発を精力的に進めております。また、2017年12月には、米国スタンフォード大に研究拠点を設置する覚書を締結し、米国における「HGF遺伝子治療薬」の臨床開発をはじめ、将来の事業に向けての協業を拡大してまいります。

当社は「人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献」することを企業理念に掲げておりますが、株主の皆様のおかげをもちましてようやく現実化が近づいてまいりました。今後は業績を飛躍させるべく、開発スピードを加速させてまいります。また、遺伝子医薬のグローバル創薬バイオベンチャーとして高い志を持ち、一日でも早く難病の患者さんに有効な治療法を提供できるよう努力を続けてまいりますので、株主の皆様には引き続きご支援、ご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。

※本株主通信における記載内容は2018年2月15日現在のものです。

※1 再生医療等製品

遺伝子治療用製品が含まれる。なお、再生医療等製品については、期限付き、条件付きで早期に承認する条件及び期限付承認制度が導入されている。

※3 先進医療B制度

最新の医療技術の中で、安全性と治療効果を確保した上で、保険診療との併用（混合診療）が認められた制度を「先進医療制度」という。この制度には先進医療AとBがあり、先進医療BIは「未承認または適用外使用である医薬品または医療機器の使用を伴う技術」に対する制度。

議決権行使のお願い

議決権は、株主様が当社の経営に参加いただくための大切な権利です。
下記のいずれかの方法により、議決権を行使していただきますようお願い申し上げます。

株主総会に当日 ご出席 いただける方

同封の議決権行使書用紙を
お持ちいただき、会場受付に
ご提出ください。

日時 平成30年3月29日(木)午前10時

場所 大阪府豊中市
新千里東町二丁目1番D-1号
千里阪急ホテル西館2階仙寿の間

株主総会に当日 ご出席 いただけない方

郵送



同封の議決権行使書用紙に各議案に対する賛否をご表示いただき、
ご返送ください。

行使期限 平成30年3月28日(水)午後10時到着

インターネット



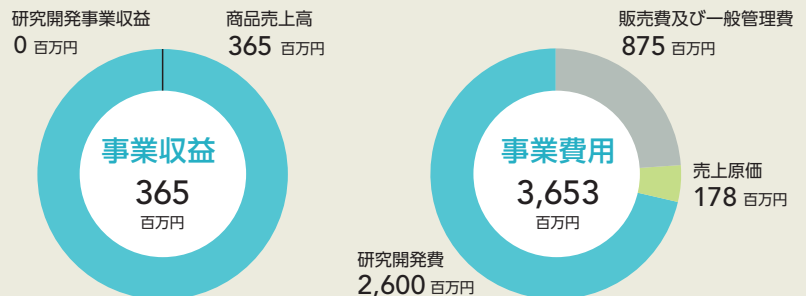
当社指定の議決権行使サイト<https://evote.tr.mufg.jp/>または
<http://srdp.jp/4563/>にて議案に対する賛否をご入力ください。詳細は
「第19期定時株主総会招集ご通知」p.3~5をご参照ください。

行使期限 平成30年3月28日(水)午後10時まで

連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2016年12月期	2017年12月期
事業収益	514	365
営業損失	4,763	3,288
経常損失	4,847	3,307
当期純損失	4,776	3,764
純資産額	3,869	3,621
総資産額	4,539	3,963
現金及び 現金同等物の 期末残高	995	1,147



決算ハイライトのポイント

- 事業収益は、提携企業からの契約一時金が当期において発生しなかったことなどにより、3億65百万円(前年同期比1億49百万円(△29.0%)の減収)となりました。
- 営業損失は、32億88百万円(前年同期の営業損失は47億63百万円)となり、前年同期より14億74百万円損失が縮小しました。これは主に、HGF遺伝子治療薬の国際共同第3相臨床試験にかかる費用が減少したことなどによるものです。

2018年12月期 通期連結業績予想

(単位:百万円)

事業収益	営業損失	経常損失	当期純損失
365	2,500	2,500	2,500

- 通期の業績予想につきましては、適宜精査を行っており、今後修正が必要となった場合には速やかに公表いたします。



会社概要

(2017年12月31日現在)

会社名	アンジェス株式会社 (英文名：AnGes, Inc.)	所在地	〈本社・彩都研究所〉 〒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4階
会社設立	1999年12月		
決算期	12月31日		
資本金	5,658百万円		
従業員数	48名(連結)		
事業内容	遺伝子医薬品の研究開発		
URL	https://www.anges.co.jp/		
			〈東京支社〉 〒108-0014 東京都港区芝五丁目20番14号 三田鈴木ビル5階



株主メモ

事業年度	1月1日～12月31日	単元株式数	100株
株主確定基準日	期末、定時株主総会 12月31日 中間6月30日	公告の方法	電子公告により行う。 公告掲載URL https://www.anges.co.jp/ (ただし、電子公告によることができない事故、その他のやむを得ない事由が生じたときは、日本経済新聞に公告いたします。)
定時株主総会	毎年3月		
株主名簿管理人 特別口座の口座管理機関	三菱UFJ信託銀行株式会社	上場証券取引所	東京証券取引所
同連絡先	三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部 東京都府中市日鋼町1-1 電話 0120-232-711(通話料無料) 郵送先 〒137-8081 新東京郵便局私書箱第29号 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部	(ご注意)	1. 株主様の住所変更、単元未満株式の買取請求、その他各種お手続きにつきましては、原則、口座を開設されている口座管理機関(証券会社等)で承ることとなっております。口座を開設されている証券会社等にお問合せください。株主名簿管理人(三菱UFJ信託銀行)ではお取り扱いできませんのでご注意ください。 2. 特別口座に記録された株式に関する各種お手続きにつきましては、三菱UFJ信託銀行が口座管理機関となっておりますので、左記特別口座の口座管理機関(三菱UFJ信託銀行)にお問合せください。なお、三菱UFJ信託銀行全国各支店にてもお取次ぎいたします。



ニュースリリースの メール配信サービス ご紹介

当社の最新ニュースリリース、IR情報などがメールでお知らせされるサービスです。
当社ホームページ「株主・投資家情報」のリンクよりご登録いただけます。
詳細はホームページのお申込ページをご覧ください。

アンジェス株式会社

見通しに関する方針

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、規制当局からの承認取得、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。

