

The logo for AnGes, featuring a stylized 'A' in blue and purple, followed by 'nGes' in blue and purple. The background of the slide is a white hexagonal grid with various colored molecular structures and network diagrams overlaid.

# AnGes

**アンジェス株式会社**

**2020年12月期 決算説明会**

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を自指して～

The AnGes logo, consisting of the word 'AnGes' in a blue and purple font with a stylized 'S' shape.

AnGes

**2021年2月**

- ◆ **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。**

1

2020年度 総括

2

事業別トピックス

3

2021年度の指針

4

今後の経営方針の一つとして

5

質疑応答

+

補足資料

# 01

## 2020年度 総括

# 2020年度は激動の1年

Q1



新型コロナウイルスDNAワクチン  
共同開発に着手



公益財団法人がん研究会と  
共同研究を開始



HGF遺伝子治療用製品  
米国で後期第Ⅱ相臨床試験開始

Q2

新型コロナウイルスDNAワクチン  
第1/2相臨床試験開始  
(大阪市立大学医学部附属病院)

AMED  
「新型コロナウイルス感染症  
(COVID-19)  
に対するワクチン開発」公募への採択

Q3

新型コロナウイルスDNAワクチン  
第1/2相臨床試験開始  
(大阪大学医学部附属病院)



新型コロナウイルスDNAワクチン  
Brickell Biotech 社との米国での  
共同開発契約締結

厚生労働省  
「ワクチン生産体制等緊急整備事業」  
への採択

AMED  
「新型コロナウイルス感染症  
(COVID-19)  
に対するワクチン開発」(2次公募)  
への採択

Q4



先進のゲノム編集技術を有する  
Emendo Biotherapeuticsを  
連結子会社化

新型コロナウイルスDNAワクチン  
第2/3相臨床試験開始



Vasomune社と共同開発の  
COVID-19治療薬「AV-001」の  
米国臨床開発開始

## 2020年度 2大トピック

1

新型コロナウイルス DNAワクチン／治療薬の開発開始

2

Emendo Biotherapeutics の買収

【2020年度 トピック①】  
新型コロナウイルス DNAワクチン／治療薬の  
開発開始

# 新型コロナウイルスDNAワクチン

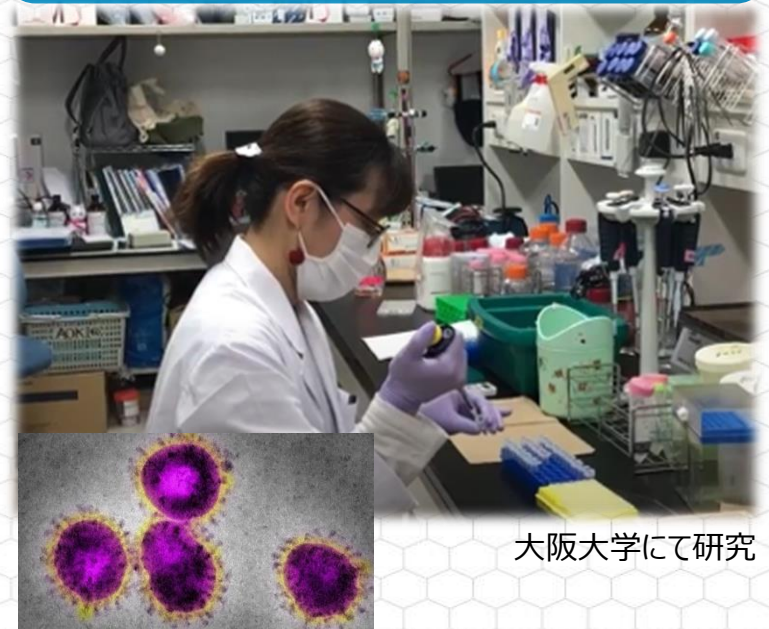


# 世界初のプラスミド製剤による 遺伝子治療用製品で培ったノウハウを活かし、 新型コロナウイルスDNAワクチン開発を始めました。

## 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

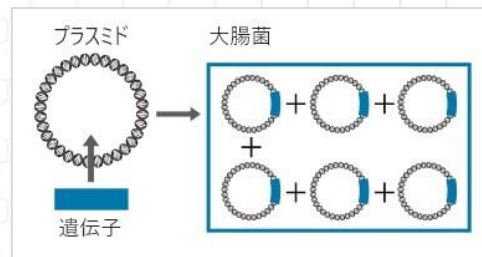


大阪大学にて研究

WHOホームページより引用



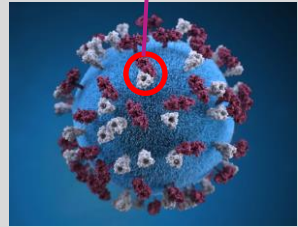
### 遺伝子治療用製品で培った プラスミドのノウハウ



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、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。

# “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？

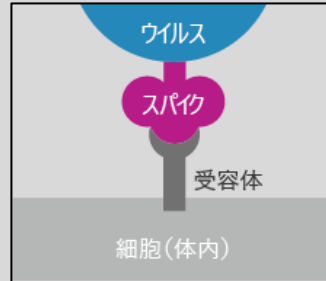


ウイルスイメージ

### 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。

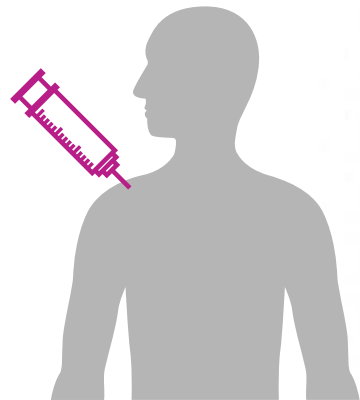
ワクチンのベースとなるDNA

### プラスミド

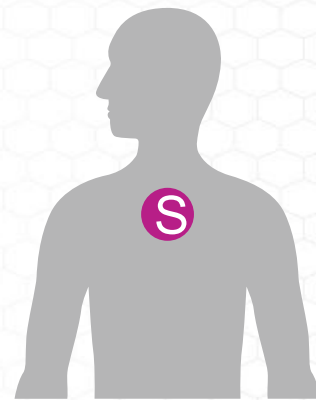
遺伝子の運び屋で、大腸菌で大量に作る事ができる。

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。

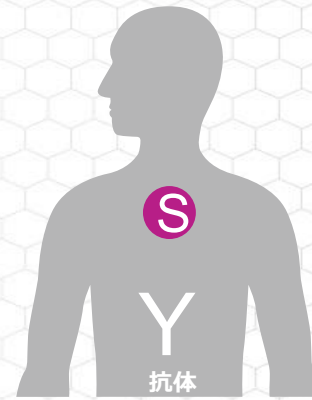
## ワクチンの仕組み：スパイクだけを体内に発現させ抗体を作るためのもの



ワクチンを接種

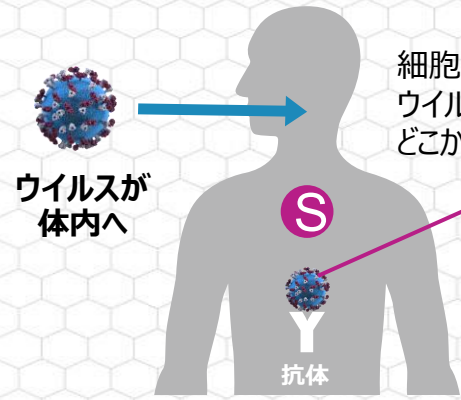


スパイクを発現



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

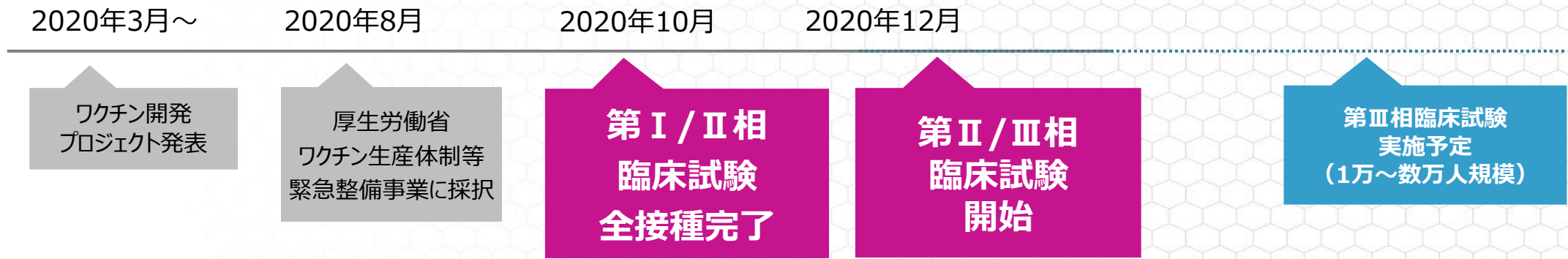


細胞の中に入らない限りウイルスは生き残らないので、どこかへ行ってしまふ

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。

## 第Ⅰ/Ⅱ相 臨床試験 全接種完了 第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験 実施中

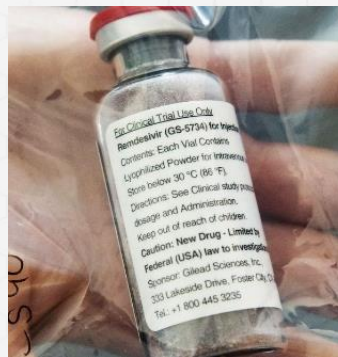


対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	第Ⅰ/Ⅱ相 臨床試験全接種完了、第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験実施中 

- 2020年12月 : 第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験開始。
- 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。

# COVID-19治療薬 (AV-001)

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。  
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中。

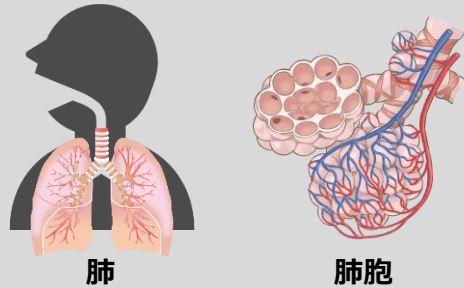


これがAV-001で、**中等度から重度のCOVID-19肺炎患者の治療薬**として、  
2020年より米国で臨床試験を開始。

# “新型コロナウイルス”治療薬開発について

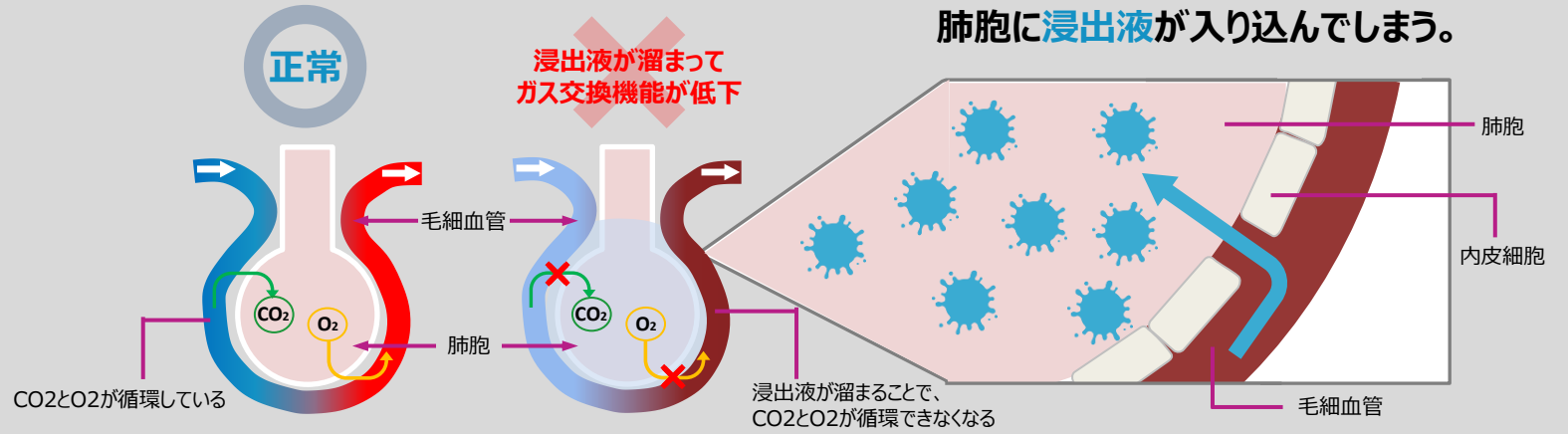
## コロナウイルスによる急性肺障害とは？

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

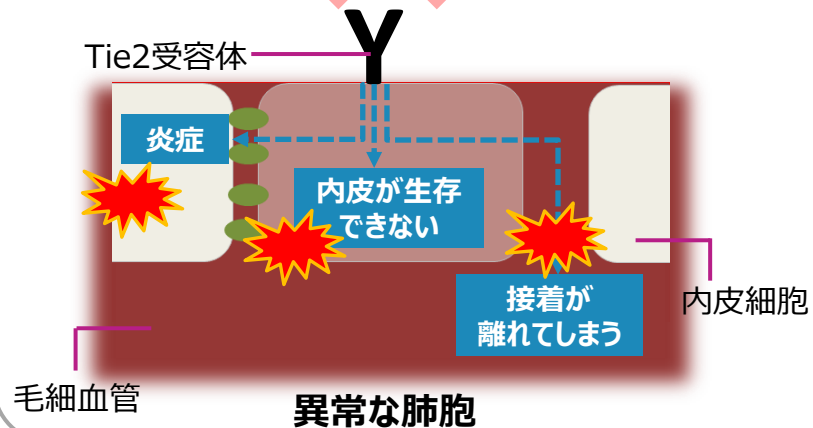


## 肺胞のさらなる拡大図

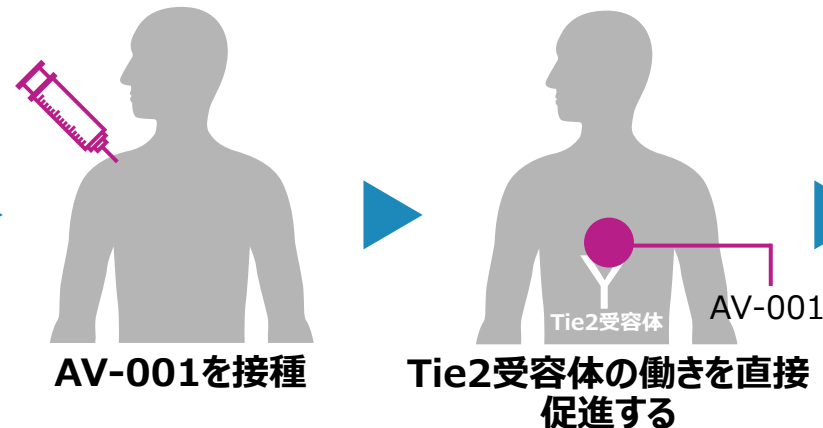
内皮細胞が離れてしまうことにより、肺胞に浸出液が入り込んでしまう。

## AV-001のメカニズム（血管の拡大）

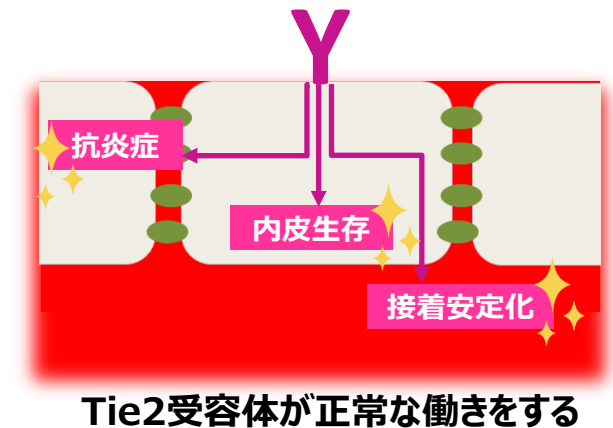
Tie2受容体の働きが抑制されることにより、内皮細胞が離れてしまい、肺胞に浸出液が入ってしまう



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



# 米国での第 I 相臨床試験を実施中

2020年12月～

米国で第 I 相  
臨床試験実施

第 I 相臨床試験に続く臨床試験でも良好な結果が得られれば、  
中等度から重度のCOVID-19治療薬として、  
米国食品医薬品局(FDA)に緊急使用許可を申請することを検討。

試験タイプ	プラセボ対照二重盲検試験
対象	健康成人

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」 米国での第 I 相臨床試験を実施中 

- 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

# 【2020年度 トピック②】 Emendo社の買収



先進のゲノム編集技術を有する、  
米国のEmendo Biotherapeuticsを買収  
(2020年12月15日 (火) クロージング)



買収合意の締結に関して

2020年11月9日

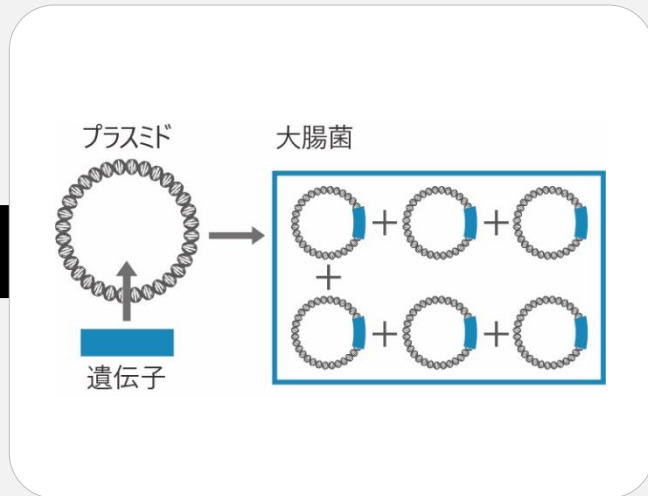


\* 2020年11月9日 Emendo社買収合意の締結 記者説明会の様子

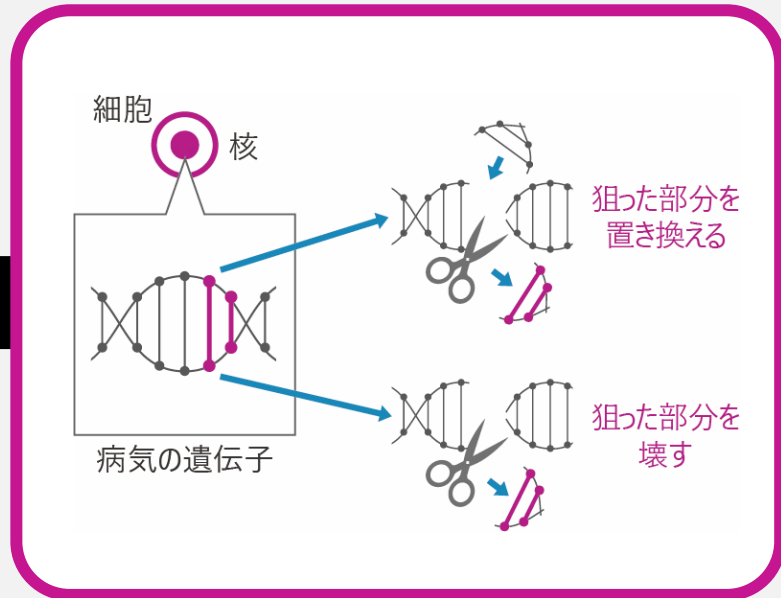
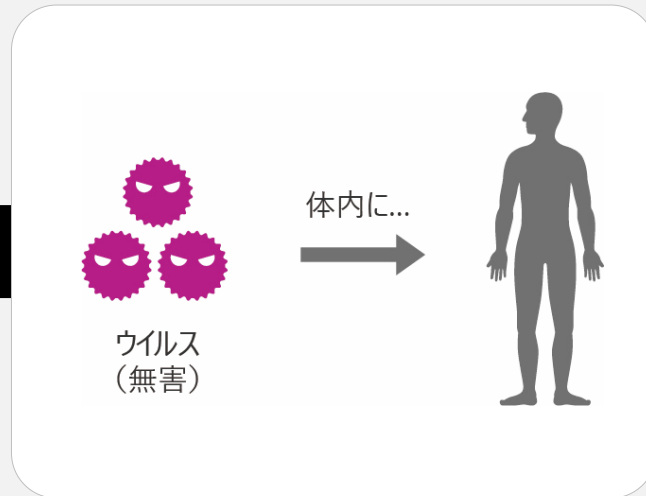
# 遺伝子治療の次のパラダイムシフト

## ゲノム編集

### プラスミドDNA



### ウイルスベクター



ゲノム編集は  
究極の遺伝子治療！

**特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する  
DNA切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、  
思い通りに遺伝子を改変する技術。**

## ★CRISPR-Cas9 クリスピーカスナイン

(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats

/CRISPR-Associated Proteins 9 )

→2012年、

これまでの技術より、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革新的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。



②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③誘導された場所の  
特定の場所を切り取る。

ヌクレアーゼ (酵素)



2020年ノーベル化学賞を受賞し、世界中で注目されている技術であり、ゲノム編集のヒトへの適用が待ち望まれています。

# Emendo Biotherapeutics



**ゲノム編集の能力を拡大することを目的として設立されました。**

合成生物学を駆使して、ゲノム編集の領域で対応できる適応症を拡大し、  
いままで治療不可能であった疾患を治療することを目指しています。（エメンド社ウェブサイトより）

本社	400 W 61st St, #2330 New York, NY USA
CEO	David Baram
設立	2015年12月
資本金及び資本準備金	68,496千米ドル（約7,192百万円）
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復、 除去することができるゲノム編集技術の開発

# Emendo Biotherapeutics

## 買収の目的

既存の治療法ではアプローチできなかった、  
多くの適応症に対応できるゲノム編集技術の獲得

遺伝子治療プログラムとゲノム編集プラットフォーム技術を  
融合して、グローバルマーケットを狙う企業になる

双方の経験を活用し、  
いち早くゲノム編集のヒトへの実用化を目指す

# Emendo Biotherapeutics

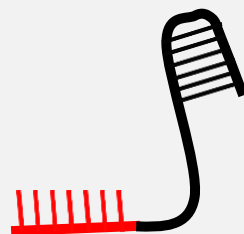
## 独自のヌクレアーゼを確立

①塩基配列を読み取る。

ATGCTTAAGCT  
TACGAATTCGA

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③より精度高く、誘導された場所の特定の場所を切り取る。

独自のヌクレアーゼ（酵素）

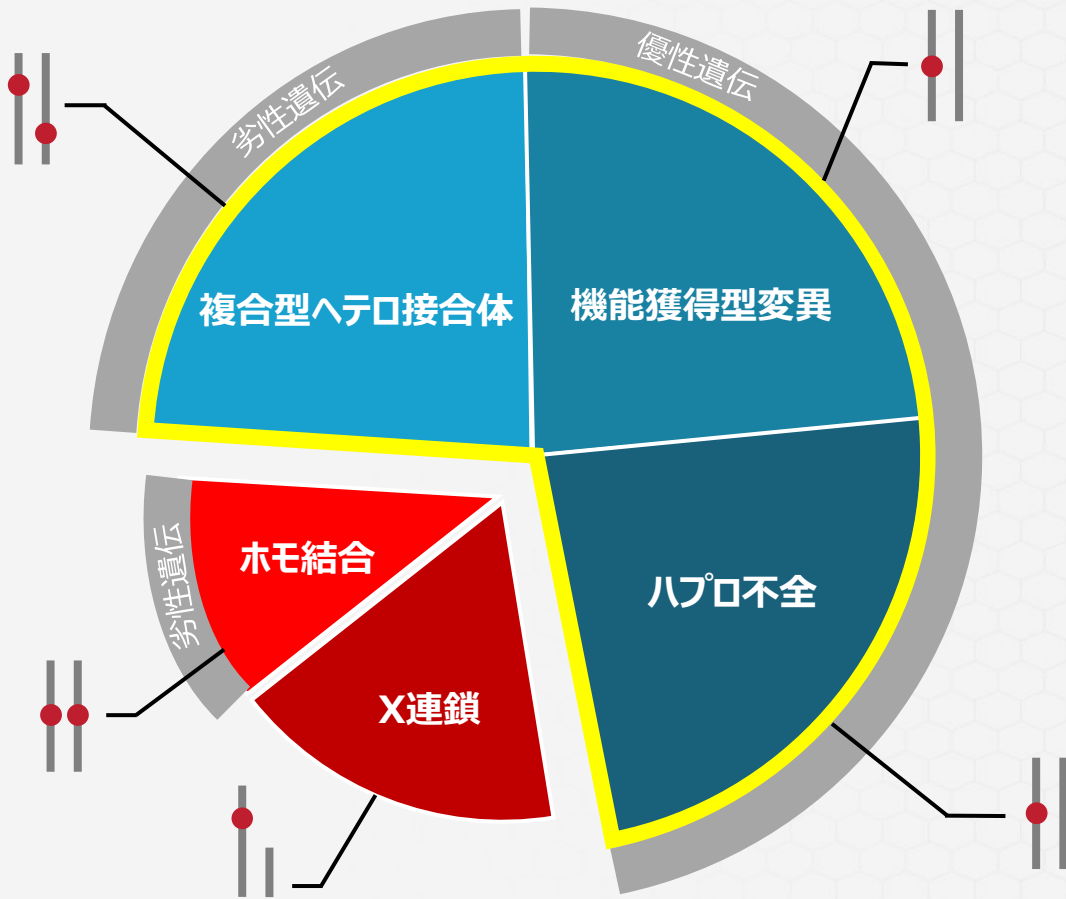


独自の開発プラットフォームを確立

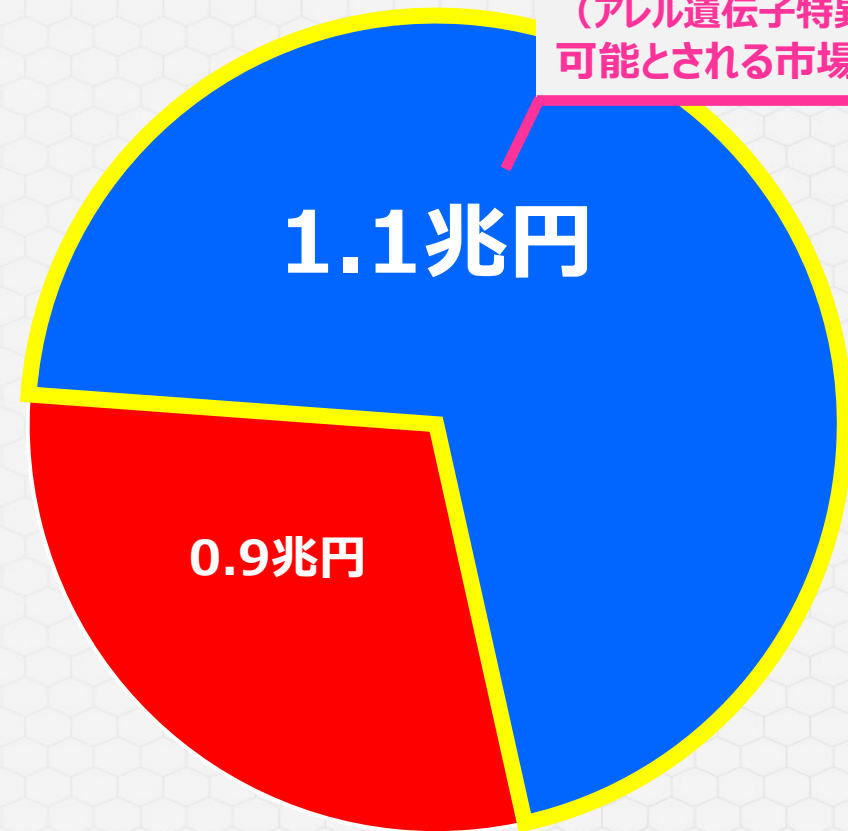
# CRISPR - OMNI™ nuclease

# Emendo Biotherapeuticsの技術で 治療可能な適応症と見込まれる市場規模

遺伝子疾患



市場規模



Emendoが持つゲノム編集技術  
(アレル遺伝子特異的ゲノム編集) で  
可能とされる市場

※エメンド社調べ



# 今後考えられる適応症

がん

etc.

眼科

etc.

皮膚科

神経系

厳密な発現調節を  
要する遺伝子疾患

治療法のない常染色体  
顕性遺伝子性疾患

血液系

循環器系

免疫疾患

etc.

etc.

# Emendo Biotherapeuticsを 買収したことで、

アンジェスは、  
ゲノム編集の技術の  
IP（特許）を保有することになる。  
自社創薬の領域が広がる。

アンジェスの  
遺伝子治療薬上市実績から  
ゲノム編集技術のヒトへの  
適用により近づく。



日本初の遺伝子創薬企業アンジェスは、  
米国を含むグローバルでの事業展開を加えることで、  
世界的な遺伝子医薬企業となり、  
**遺伝子治療プログラムと**  
**次世代ゲノム編集プラットフォーム技術**を有する  
**世界初**の企業となります。

# 2020年度 決算サマリー

# 2020年度 連結業績ハイライト

項目 (単位:百万円)	2019年度	2020年度	増減額
事業収益	326	39	△286
事業費用	3,596	5,639	+2,042
営業損失	△3,270	△5,599	△2,329
営業外収支	△23	△1,018	△995
経常損失	△3,293	△6,618	△3,325
特別利益/損失	△458	+2,413	+2,871
当期純損失	△3,750	△4,209	+459

## 事業収益 (前年比△87.8%)

コラテジェン売上 39百万 (前年4百万)  
前年はナグラザイム170百万  
研究開発事業収入152百万

## 事業費用 (前年比+63.8%)

売上原価23百万 (前年87百万)  
・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3,796百万(前年2,215百万)  
・コロナワクチンの開発による研究材料費・外注費・  
研究消耗品等の増加  
販管費1,820百万 (前年1,294百万)  
・Emendo買収に伴うコンサルティング費用  
及び資本見合の租税公課の増加

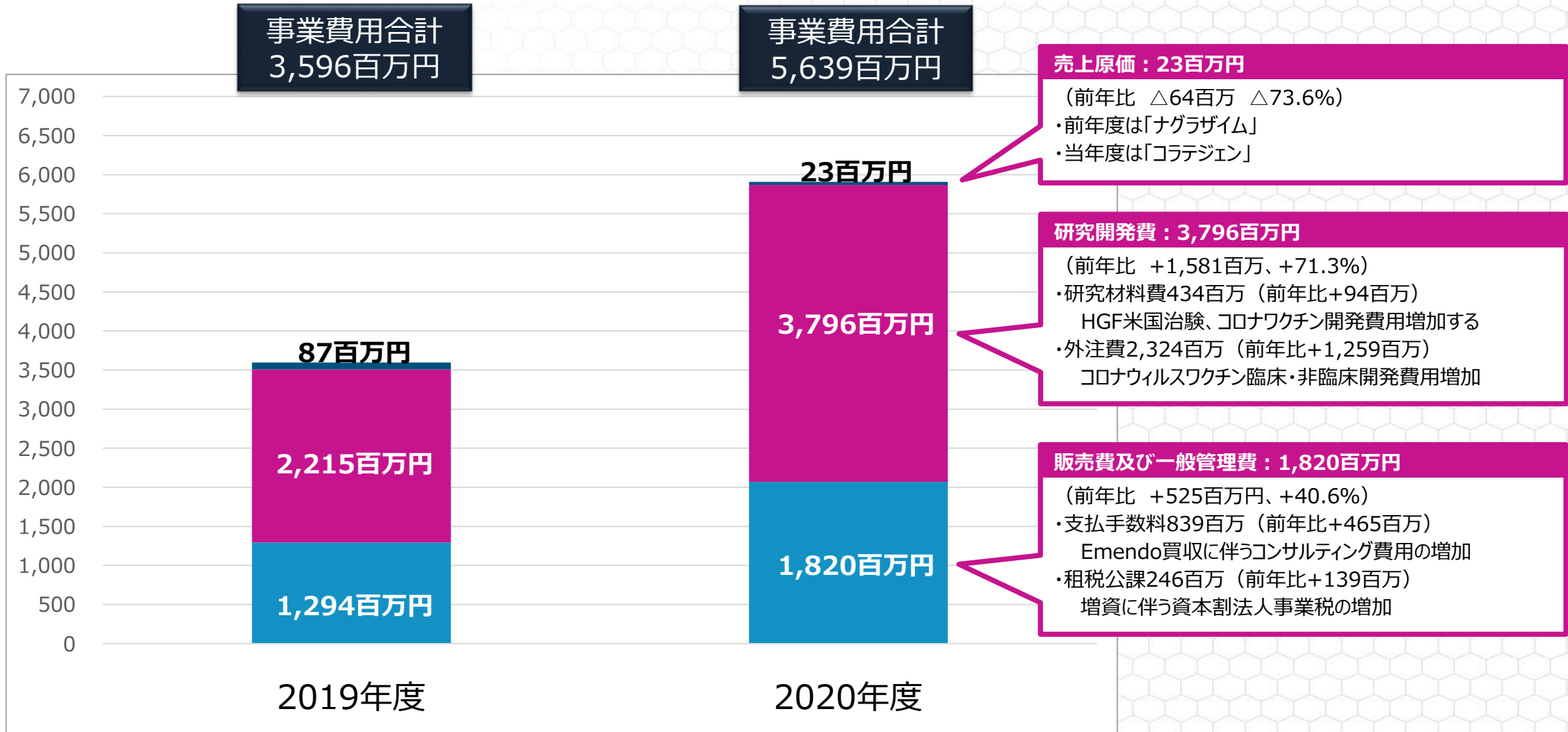
## 営業外収支

・持分法投資損失△909百万  
・株式交付費△117百万 (前年△41百万)

## 特別利益/特別損失

・段階取得に係る差益2,428百(前年-百万)  
・投資有価証券評価損-百万 (前年468百万)

# 事業費用の内容



# 連結貸借対照表 ハイライト

項目 (単位:百万円)	2019年 12月末	2020年 12月末	増減額
流動資産	10,992	14,166	+ 3,174
現金及び預金	10,040	11,537	+ 1,496
固定資産	1,532	24,187	+ 22,655
のれん	—	22,713	+ 22,713
総資産	12,524	38,354	+ 25,830
負債合計	469	5,674	+ 5,205
純資産	12,055	32,679	+ 20,624

### 流動資産

- コロナワクチン開発費用の前払による前渡金 (+886百万)
- コラテジェン用原薬製造に伴う原材料の増加 (+576百万)

### のれん

- Emendo社子会社化によるのれん 22,713百万 (10年均等償却 2021-2030) 毎年1/10

### 負債合計

- コロナワクチン開発に対するAMED・厚労省助成金の前受金計上 (3,594百万)
- Emendo社を完全子会社化した際の未払金増加 (1,128百万)

(2020年度に実施した資金調達)

第37回新株予約権 (第三者割当て/行使価額修正条項付) 割当先: フィリップ証券	11,469百万円	・さらなる開発品パイプラインの拡充 ・HGF遺伝子治療用製品の原薬製造委託費用 ・運転資金
--	-----------	---

# 2021年度通期業績見通し

	事業収益	営業利益	経常利益	当期純利益
2021年度通期 (予想)	-	-	-	-
2020年度通期 (実績)	39	△5,599	△6,618	△4,209

(単位：百万円)

2021年度の業績見通しにつきましては、新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチン開発について、今後の臨床試験の規模や実施方法等の詳細な内容が未確定であり、また、国等からの補助金についても今後の開発段階で、どのような公募の有無があるか不明であるため、現時点では業績への影響を見通すことが難しい状況となっております。

こうした状況を踏まえ、現時点では適正かつ合理的な業績見通し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

## 事業別トピックス

# 弊社の事業領域

(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- $\kappa$ B  
デコイオリゴ  
DNA

高血圧  
DNAワクチン

新型  
コロナウイルス  
予防用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。

マイクロ  
バイオーム  
事業

診断事業  
(抗がん剤)

# 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 (ペ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 (ペ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		
	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	Named Patient Programも活用	
NF-kBデコイオリゴDNA	米国	-	AMG0103 注射剤	腰痛症	▶	▶	▶	▶	実施中		
DNAワクチン	オーストラリア	-	AMG0201 注射剤	高血圧	▶	▶	▶	▶	実施中		
DNAワクチン	国内外	-		新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	▶	▶	▶	▶	実施中	第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験実施中	
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune		COVID-19 および 急性呼吸窮迫症候群	▶	▶	▶	▶	実施中		

※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

# 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】

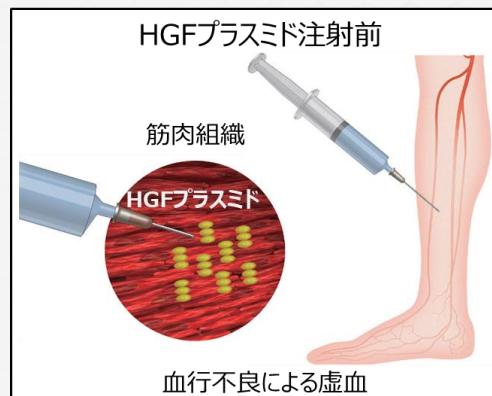
標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善

### 【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。

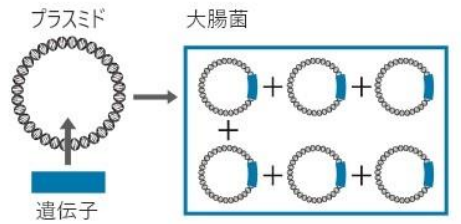
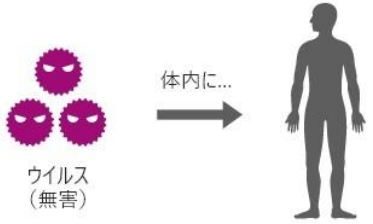
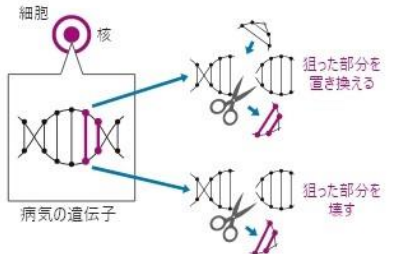
## HGF遺伝子治療用製品による血管新生



# 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

日本国内初となる遺伝子治療用製品

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>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>標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる</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無害な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 HGF アンジェス株式会社 (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>

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である

② **世界初**のプラスミド（DNA分子）製品である

※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実用化製品である

④ **世界初**の末梢血管を新生する治療用製品である

⑤ **世界初**の循環器医療領域での治療用製品である

\* 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。

# 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。



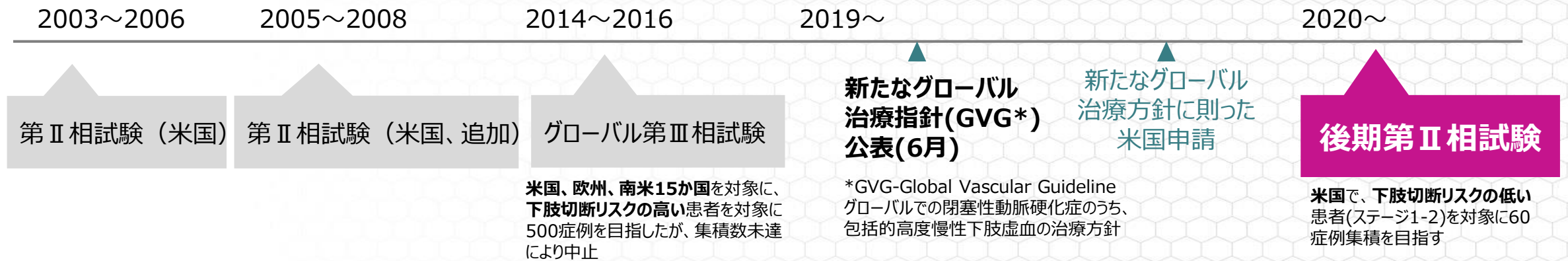
## 本承認に向けて、市販後調査実施中。 （2020年12月時点で約80例）



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。 本承認に向け、市販後調査実施中。（2020年12月時点で約80例） 

- 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。

## 米国にて後期第Ⅱ相臨床試験を実施中。



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～）

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。

# NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA 開発状況

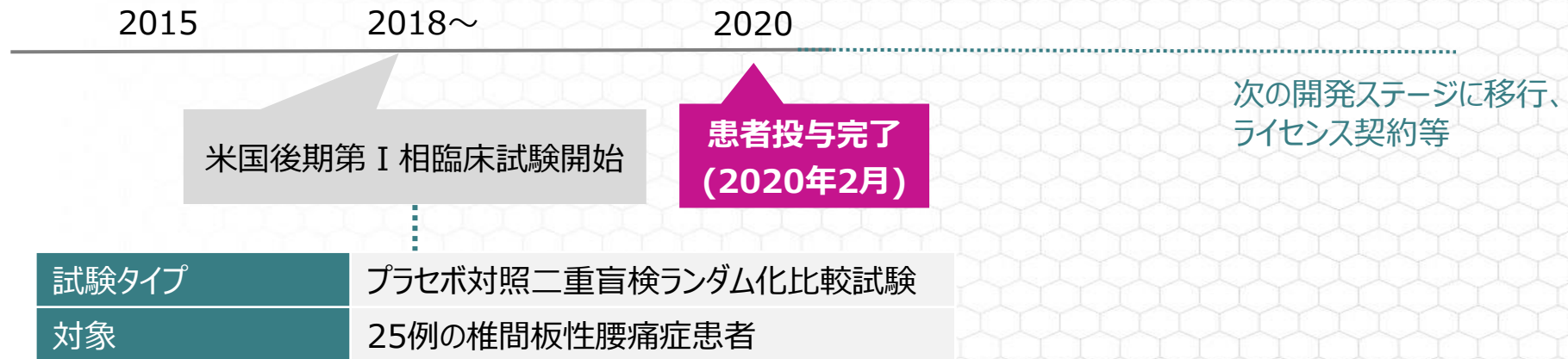
生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子NF- $\kappa$ Bに対する特異的な阻害剤。  
NF- $\kappa$ Bの活性化による過剰な免疫・炎症反応を原因とする疾患の治療薬として研究開発中。

▶ 椎間板性腰痛症

次世代型デコイを開発中。

▶ キメラデコイ

# 米国での後期第 I 相臨床試験の患者投与完了



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。  
 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。

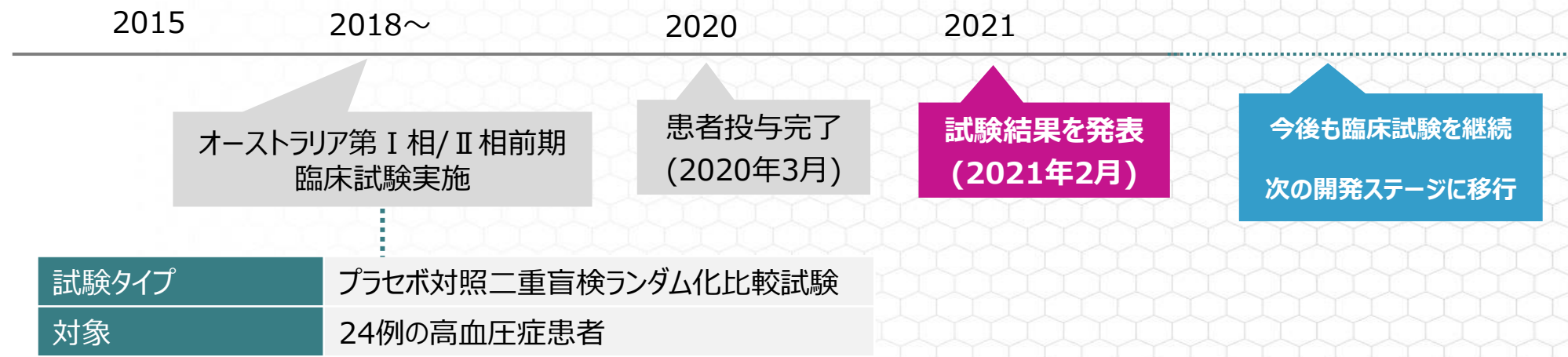
※米国を含め世界での市場規模が大きい。  
 ※米国では椎間板内注射による治療は一般的でこの手技に習熟している医師は多く、また患者数も多い。

## 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

## 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。

# マイクロバイオーム事業 状況

## EIC Accelerator Pilotの資金援助先に選抜

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



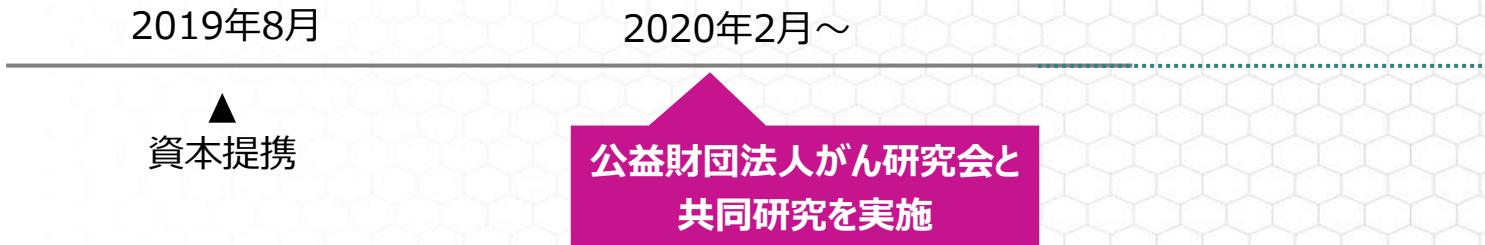
2020年1月  
EIC Accelerator Pilotの資金援助先に選抜  
マイバイオティクス社が申請していた、あらゆる民族、年齢性別関係なく、さらに病気や慢性疾患の治療や健康サプリや薬品としての目的など、世界初となる1人1人にパーソナライズされた腸内細菌を生成することを可能にする『MB Select』というプロジェクトが、専門家の厳正な審査を経て評価され、約200万ユーロの資金援助を受けることになりました。



# 診断事業（抗がん剤） 状況

# 公益財団法人がん研究会と共同研究を実施

対象事業	診断事業（抗がん剤）
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



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実施。  
 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。

# 03

## アンジェス 2021年度の指針

# アンジェス 2021年度の指針

2020年度

将来像を描くことが出来るような年



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

## この先、実らせていきたいこと

- 1 **新型コロナウイルスDNAワクチン／治療薬**
- 2 **ゲノム編集 具体的なプロジェクト化**
- 3 **HGF遺伝子治療用製品の国内および米国での治験**
- 4 **腰痛症向け NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの治験**
- 5 **高血圧DNAワクチンの治験**

# 04

今後の経営方針の一つとして

# 持続可能な開発目標 (SDGs)

## SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS

<b>1</b> 貧困をなくそう 	<b>2</b> 飢餓をゼロに 	<b>3</b> すべての人に健康と福祉を 	<b>4</b> 質の高い教育をみんなに 	<b>5</b> ジェンダー平等を実現しよう 	<b>6</b> 安全な水とトイレを世界中に 
<b>7</b> エネルギーをみんなにそしてクリーンに 	<b>8</b> 働きがいも経済成長も 	<b>9</b> 産業と技術革新の基盤をつくろう 	<b>10</b> 人や国の不平等をなくそう 	<b>11</b> 住み続けられるまちづくりを 	<b>12</b> つくる責任つかう責任 
<b>13</b> 気候変動に具体的な対策を 	<b>14</b> 海の豊かさを守ろう 	<b>15</b> 陸の豊かさを守ろう 	<b>16</b> 平和と公正をすべての人に 	<b>17</b> パートナーシップで目標を達成しよう 	

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。



## 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。

SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS



# 希少疾患とは？①

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。

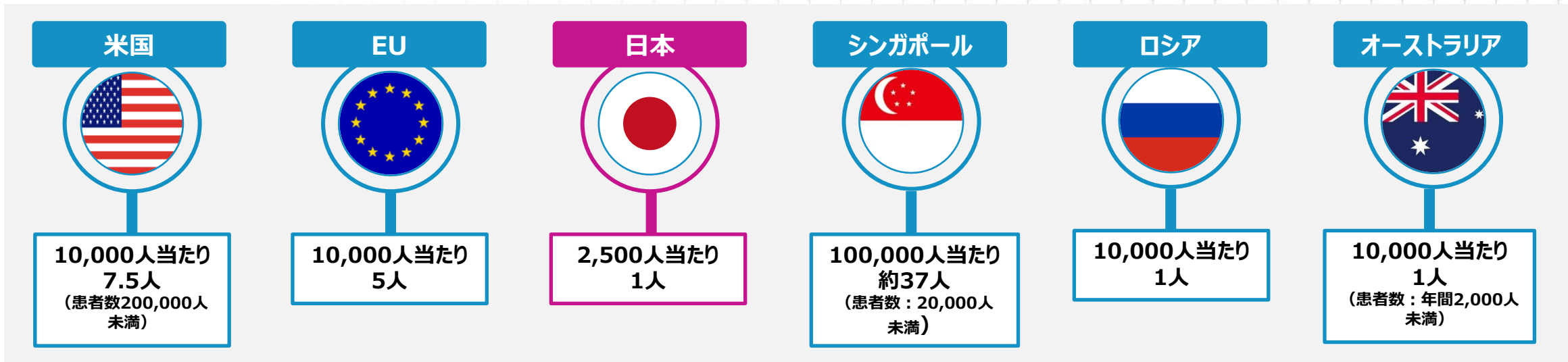
**希少疾患は重度で慢性的な症状**である傾向があり、  
多くの場合、進行性かつ衰弱性で生命を脅かす疾患である。  
このため、希少疾患患者の30%は5歳に達する前に死亡する。

希少疾患に関する普遍的な定義は存在せず、  
国によって疾患の「希少性」を定義する閾値が異なる。

## 希少疾患とは？②

表に示すように、**希少疾患を定義する閾値は国によって異なる**。  
 多くの国々では、公式に定義されていないが、暗黙的な閾値が存在することが多い。  
 希少疾患は複雑な性質を帯びていることから、国ごと又は地域ごとの人口、  
 文化、資源、及び医療制度を考慮して定義付けすることが重要である。  
 その一方で、希少疾患には有病率以外の状況も考慮される場合がある。  
 例えば日本では、**希少疾患を含む難病は主として、慢性的に発現し、  
 患者及びその家族によるかなりのケアを必要とする疾患**と定義される。

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）



# 希少疾患とは？③

## 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**

一つひとつの希少疾患の患者数は少ないが、希少疾患全体の患者数は世界全体で3億5,000万人と推定されている。全ての希少疾患を併せると、患者数は人口の約6～10%、出生数の3～4%を占める。

## 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80%は遺伝性であり、残りはウイルスや細菌への感染、アレルギー、及びその他の環境要因によって発症すると考えられている。

## 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**

希少疾患は5,000～8,000種類存在し、新たな希少疾患が現在も続々と発見されている。希少疾患が人々に及ぼす影響はそれぞれ大きく異なるため、同じ疾患の患者であっても徴候や症状が全く異なっていたり、同じ疾患に多くのサブタイプが存在したりする場合がある。このような多様性が原因で、ある症状に関して最適かつタイムリーな定義付け、診断、及び管理を行うのに十分な経験を積むことが難しく、医療従事者及び科学者に共通する重大な課題となっている。

## ムコ多糖症VI型治療薬 「ナグラザイム®」



ムコ多糖症VI型とは、  
遺伝的な要因で、体内の酵素が生まれつき欠損または機能低下し、  
骨の変形や特異な顔つき、筋肉の膠着(こうちやく)や  
関節が固いといったものが重い症状として現れる、  
日本国内での患者は9名とごく珍しい遺伝病。  
2008年～2019年に、  
ムコ多糖症治療薬「ナグラザイム®」を当社で販売していたが、  
2019年3月をもって、国内の製造販売権を  
アンジェスからバイオマリン社日本法人に承継。

## 慢性動脈閉塞症 遺伝子治療用製品「コラテジエン®」



慢性動脈閉塞症の潰瘍は、  
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  
起こる状態で、**下肢切断を余儀なくされることもある重篤な病態。**  
慢性動脈閉塞症の潰瘍を対象疾患として、  
当社は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「コラテジエン®」の  
製品化に成功。

## 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。



# 遺伝性希少疾患の解決実現を目指して

1 グローバル基準でのガバナンス体制へ

2 さらに希少疾患への研究・開発プロジェクト化

SUSTAINABLE  
DEVELOPMENT GOALS

# 「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>

# 參考資料



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>

## 新型コロナウイルスワクチン関連

### ■ 新型コロナウイルス特設サイト

<https://www.anges.co.jp/progress/>

### ■ 世界で開発しているコロナワクチンの種類 (下記リンク先のP.7~8)

[https://www.anges.co.jp/ir/\\_pdf/2020\\_event200917\\_q7i6.pdf](https://www.anges.co.jp/ir/_pdf/2020_event200917_q7i6.pdf)

## ゲノム編集関連

### ■ Emendo社買収合意の締結 記者説明会 (2020年11月9日)

※当社HPのIR資料室「その他参考資料」より、ご覧ください。

<https://www.anges.co.jp/ir/document.php>

### ■ 2020年12月15日リリース「先進のゲノム編集技術を有する米エメント社買収手続き完了のお知らせ」

[https://www.anges.co.jp/pdf\\_news/public/mlWTOzH6XSs8nhGvJpAaBj3jdyQTVDA1.pdf](https://www.anges.co.jp/pdf_news/public/mlWTOzH6XSs8nhGvJpAaBj3jdyQTVDA1.pdf)

## 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.21)

[https://www.anges.co.jp/ir/\\_pdf/2020\\_event200917\\_q7i6.pdf](https://www.anges.co.jp/ir/_pdf/2020_event200917_q7i6.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=100247>

## 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](https://www.anges.co.jp/_pdf/about_vaccine1.pdf)

## マイクロバイオーム事業関連

### ■ マイクロバイオームとは

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

## 診断事業 (抗がん剤) 関連

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

## 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](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](https://www.anges.co.jp/faq/_pdf/story_of_naglazyme.pdf)