



AnGes

アンジェス株式会社

2021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

2021年8月11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。**

1 2021年12月期 第2四半期決算サマリー

2 2021年度指針

3 事業別トピックス

4 質疑応答

+ 補足資料

01

2021年12月期 第2四半期決算サマリー

2021年度第2四半期 連結業績ハイライト

増減の主な要因

項目 (単位:百万円)	2020年 第2四半期	2021年 第2四半期	増減額
事業収益	16	23	+6
事業費用	1,783	7,563	+ 5,780
営業損失 (△)	△1,766	△7,540	△5,774
営業外収支※	△130	210	+ 340
経常損失 (△)	△1,896	△7,330	△5,434
特別利益/損失※	+ 5	△105	△111
当期純損失 (△)	△1,896	△7,450	△5,554

当期よりEmendoの業績を連結損益計算書に反映

事業収益 (前年比+37.1%)

事業収益はすべてコラテジェン販売

事業費用 (前年比+324.2%)

Emendoの新規連結に伴い事業費用増加
 売上原価13百万 (前年9百万)
 研究開発費4,961百万(前年1,104百万)
 ・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2,588百万 (前年668百万)
 ・のれんの償却
 ・コンサルティング費用等支払い手数料の増加

営業外収支

・為替差益+ 266百万 (全年36百万)
 ・株式交付費△82百万 (前年△58百万)

特別利益/特別損失

・投資有価証券評価損△138百万 (前年-)

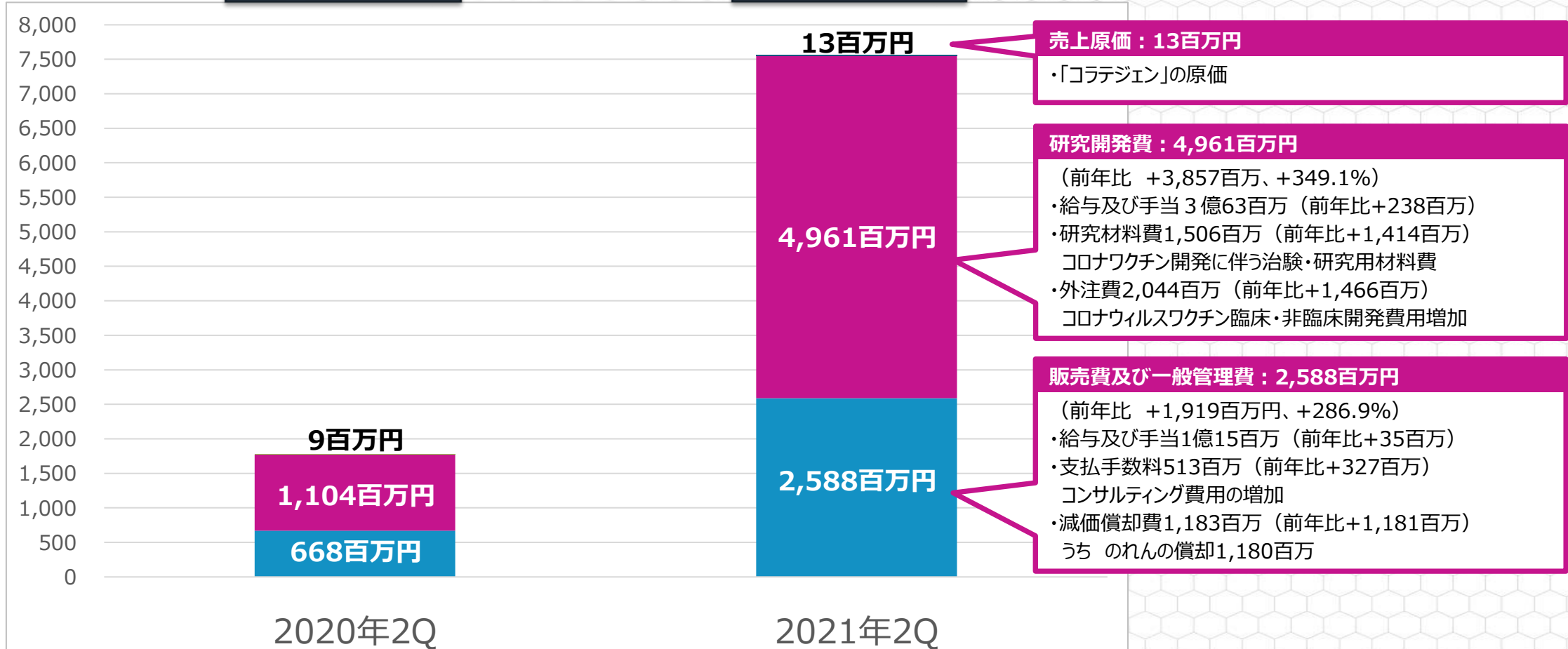
※ : △は損失

事業費用の内容

事業費用合計
1,783百万円

事業費用合計
7,563百万円

当期よりEmendoの事業費用連結



連結貸借対照表 ハイライト

項目 (単位:百万円)	2020年 12月末	2021年 6月末	増減額
流動資産	14,166	27,489	+ 13,322
現金及び預金	11,537	23,819	+ 12,282
固定資産	24,187	24,269	+ 81
のれん	22,713	23,017	+ 303
総資産	38,354	51,758	+ 13,403
負債合計	5,674	7,709	+ 2,034
純資産	32,679	44,048	+ 11,369

流動資産

- 資金調達 (17,474百万) による現金及び預金増加+12,282百万
- コロナワクチン開発の製造費用前払に伴う前渡金の増加+1,076百万

のれん

- Emendo社子会社化によるのれん当期償却△1,180百万、円安に伴う為替換算調整等+1,484百万 (NET+303百万)

負債合計

- コロナワクチン開発に対するAMED・厚労省助成金による前受金増加+2,166百万

純資産

- 増資に伴う資本金、資本剰余金の増加+17,494百万
- 当期損失 △7,450百万
- のれん等の為替換算調整+1,355百万

(2021年度に実施した資金調達)

第41回新株予約権 (第三者割当て/行使価額修正条項付) 割当先: キャンターフィツジエラルド証券	17,474百万円	・Emendo社の運営資金 ・さらなる事業基盤拡大の資金
--	-----------	---------------------------------

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通期の業績予想は開示を見合わせます。

02

2021年度指針

アンジェス 2021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

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- κ BデコイオリゴDNAの治験**
- 5 **高血圧DNAワクチンの治験**

03

事業別トピックス

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		
	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	-	AMG0201 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 (COVID-19)	▶	▶	▶	▶	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	▶	▶	完了	▶	前期 準備中		

※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。

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- κ BデコイオリゴDNAの治験

5

高血圧DNAワクチンの治験

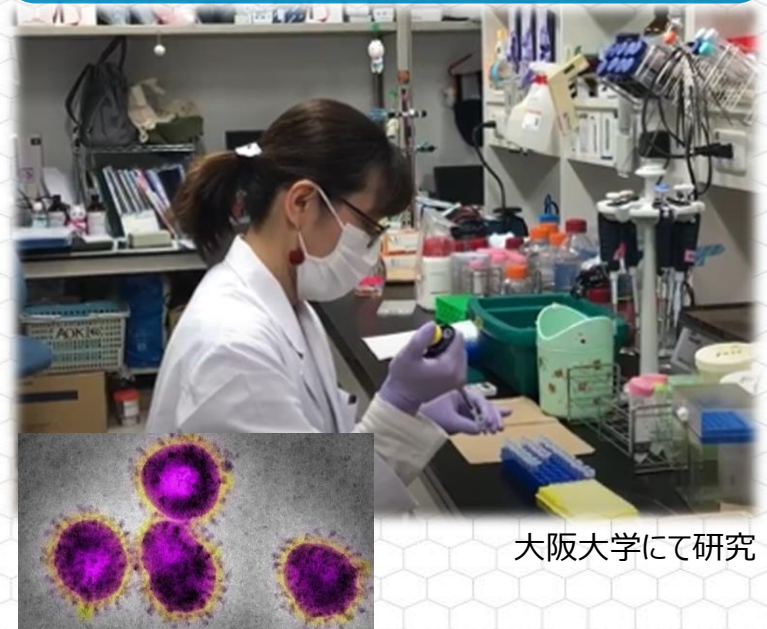
新型コロナウイルスDNAワクチン

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

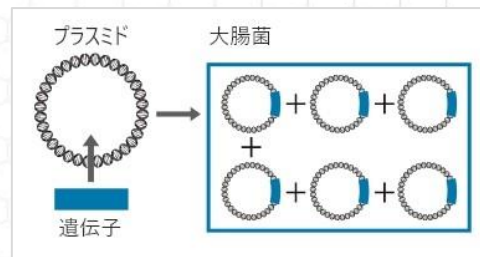


大阪大学にて研究

WHOホームページより引用



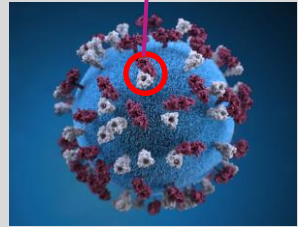
遺伝子治療用製品で培った プラスミドのノウハウ



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？

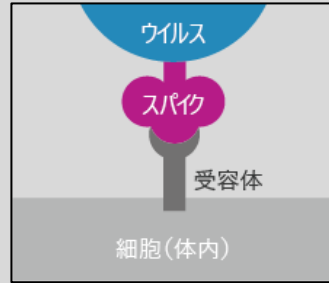


ウイルスイメージ

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

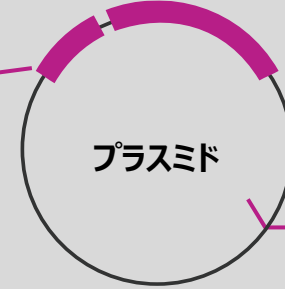


DNAワクチンとは？

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。

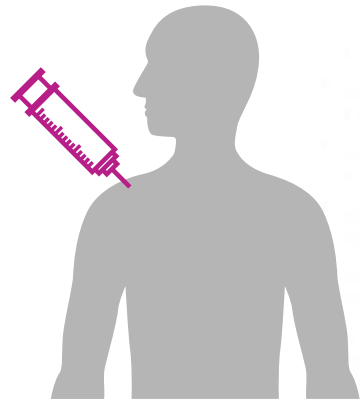
ワクチンのベースとなるDNA



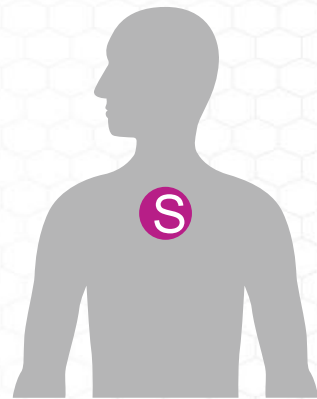
遺伝子の運び屋で、大腸菌で大量に作る事ができる。

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。

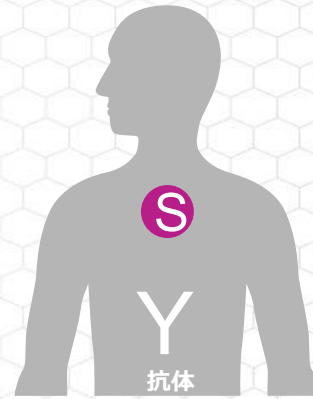
ワクチンの仕組み：スパイクだけを体内に発現させ抗体を作るためのもの



ワクチンを接種

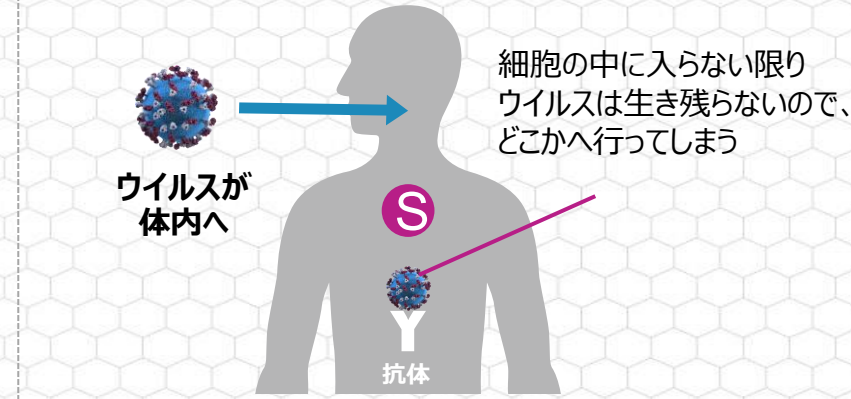


スパイクを発現



細胞が抗体を作る

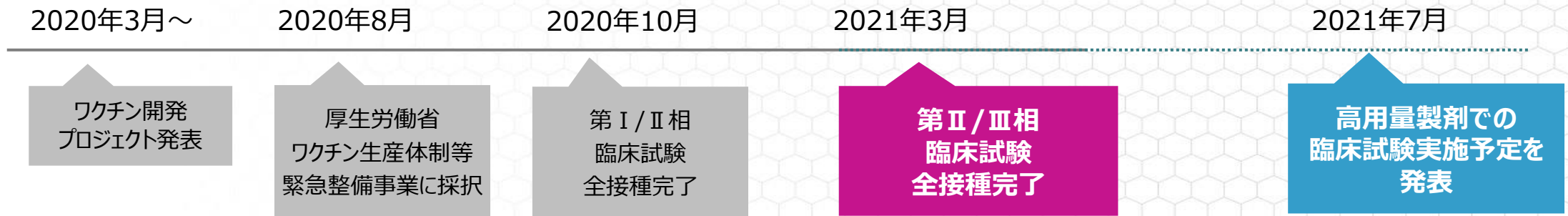
無害のスパイクに対して、抗体ができるので抵抗力ができる



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Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験 全接種完了 準備が整い次第、高用量製剤での臨床試験開始



対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験全接種完了(2021年3月)／高用量製剤での臨床試験実施を発表(2021年7月)

- 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。

2021年7月26日に 新型コロナウイルスDNAワクチン 高用量製剤での接種量を増やした臨床試験について発表しました。

2021年7月26日

各位

会社名 アンジェス株式会社
 代表者名 代表取締役社長 山田 英
 (コード番号 4563 東証マザーズ)

新型コロナウイルス DNA ワクチン: 高用量製剤での接種量を増やした臨床試験について

新型コロナウイルス DNA ワクチンについて、現在行っている臨床試験に加えて、高用量製剤での接種量を増やした臨床試験を行うことになりましたことをご報告いたします。この臨床試験は、有効性としての免疫原性をより高めるための取り組みです。今回は、プラセボ(偽薬)を使用しない実薬のみの非盲検で実施いたします。また、接種方法として筋肉内接種と皮内接種を行います。この高用量製剤での臨床試験については、PMDAなどの規制当局と協議の上、過日治験届が受理され、臨床試験を実施する施設でのIRB(治験審査委員会)で承認されたことを受けて、このたび発表することといたしました。各臨床試験実施施設での準備が整い次第、安全性を確認しながら接種を進めます。

【新型コロナウイルス DNA ワクチン高用量製剤の臨床試験概要】

- 概要:健康成人志願者を対象とした、治験薬の安全性及び免疫原性の評価のための無作為化、非盲検試験
- 目標症例数:400例

接種方法	筋肉内	皮内
用量(1回の接種)	100µg	100µg
接種回数	2回	2回
接種間隔	4週間	4週間

新型コロナウイルスDNAワクチン高用量製剤での臨床試験を予定

この臨床試験は、有効性としての免疫原性をより高めるための取り組みとなります。
次回は、プラセボ（偽薬）を使用しない実薬のみの非盲検での実施を予定しており、
接種方法として筋肉内接種と皮内接種を行います。

接種方法	筋肉内			皮内	
用量(1回の接種における用量)	2mg	4mg	8mg	1mg	1mg
接種間隔と回数	2週間隔3回	4週間隔2回	4週間隔2回	2週間隔3回	4週間隔2回
合計接種量	6mg	8mg	16mg	3mg	2mg
症例数	80	80	80	80	80

【新型コロナウイルスDNAワクチン高用量製剤の臨床試験概要】

健康成人志願者を対象とした、治験薬の安全性及び免疫原性の評価のための無作為化、非盲検試験。
目標症例数は400例。

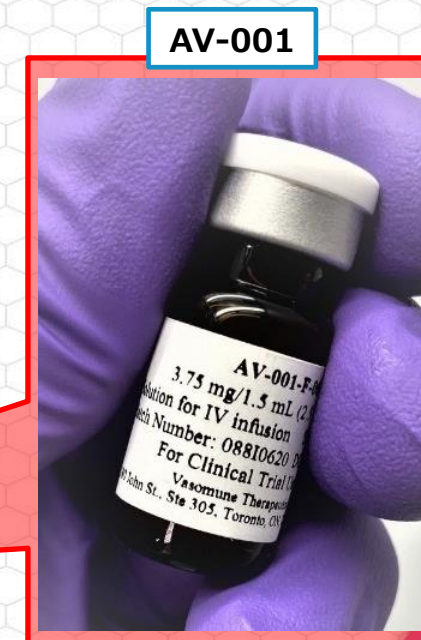
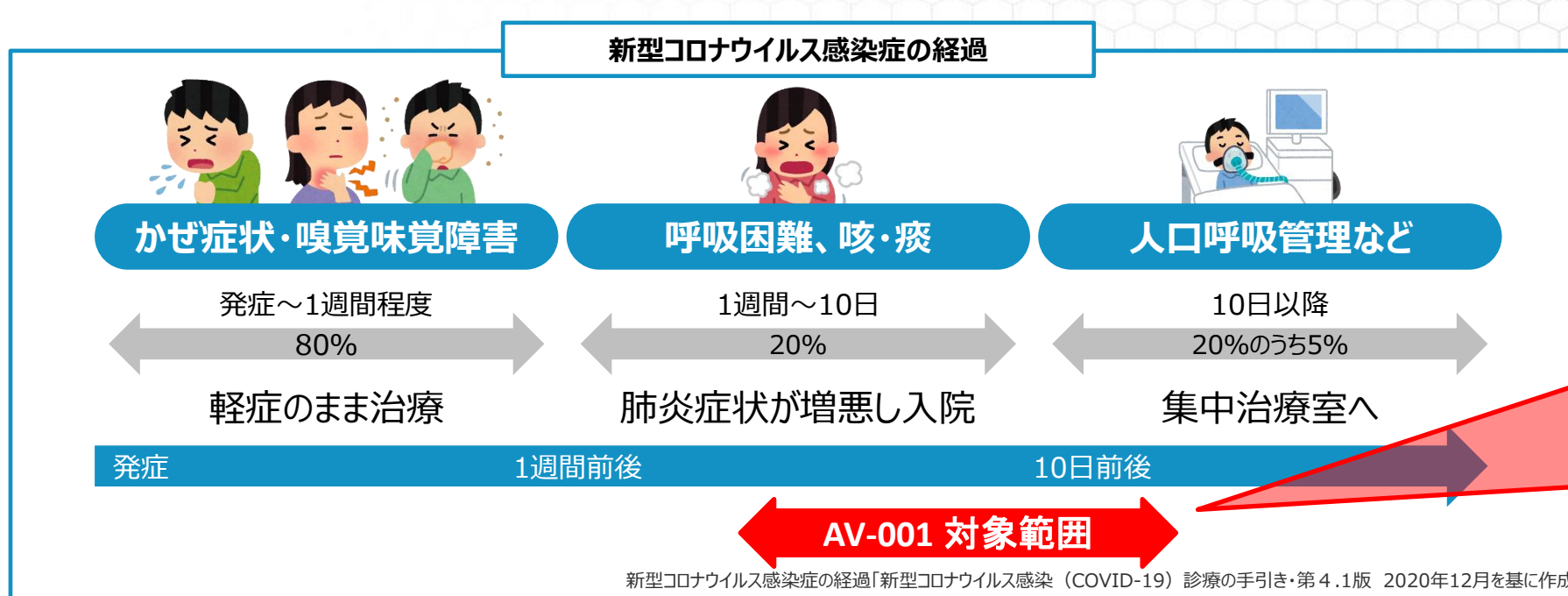
他社のワクチンの数値にできるだけ照準を合わせた予防効果の高いワクチンを
開発する必要があり、高用量でさらに臨床試験を進めます。

The background features a white hexagonal grid pattern. In the upper right, there are several network diagrams: one with colored nodes (yellow, green, red) and lines, another with purple nodes and lines, and a larger one with white nodes and lines. A purple and blue gradient shape is in the bottom right corner.

COVID-19治療薬 (AV-001)

COVID-19治療薬「AV-001」とは

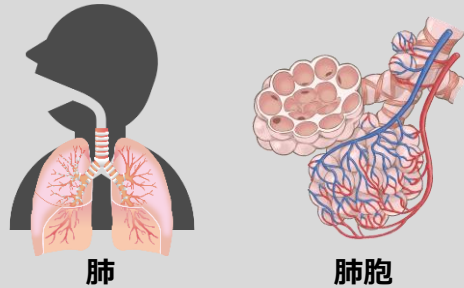
AV-001は、
カナダのバイオ医薬品企業である**Vasomune社と共同開発**を進めている、Tie2受容体アゴニスト。
もともと2018年より、全世界を対象に、
急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした医薬品として共同開発を実施してきたが、
新型コロナウイルス感染症における、**中等度から重度のCOVID-19肺炎患者の治療薬**としても、
2020年より米国で臨床試験を開始しました。



“新型コロナウイルス”治療薬開発について

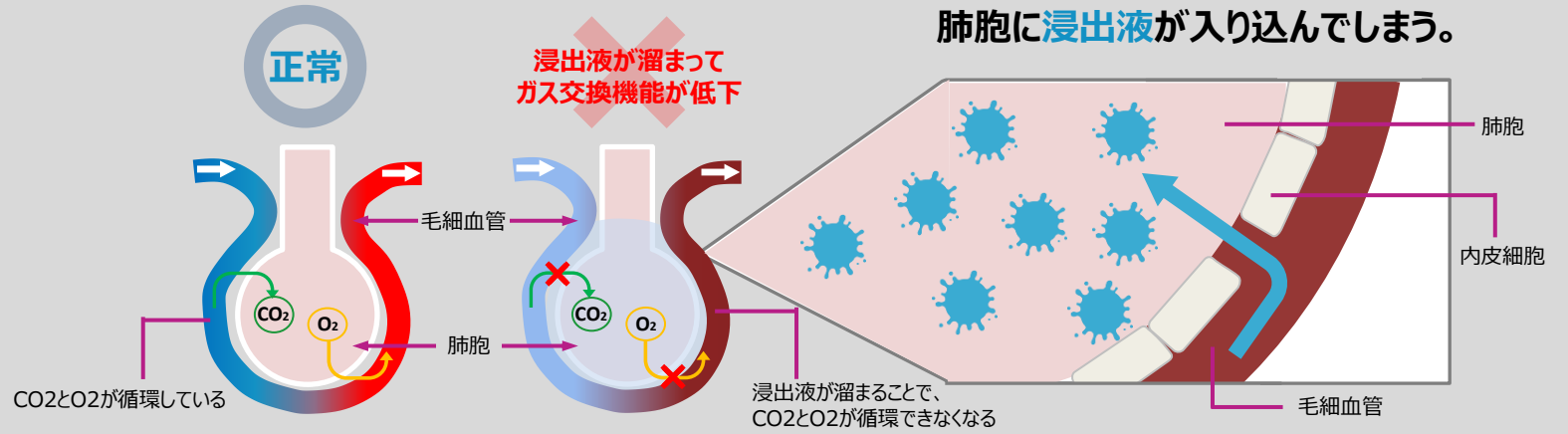
コロナウイルスによる急性肺障害とは？

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

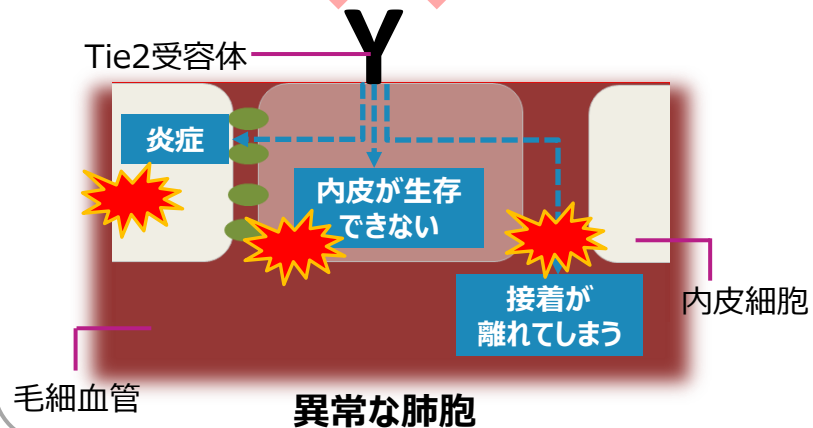


肺胞のさらなる拡大図

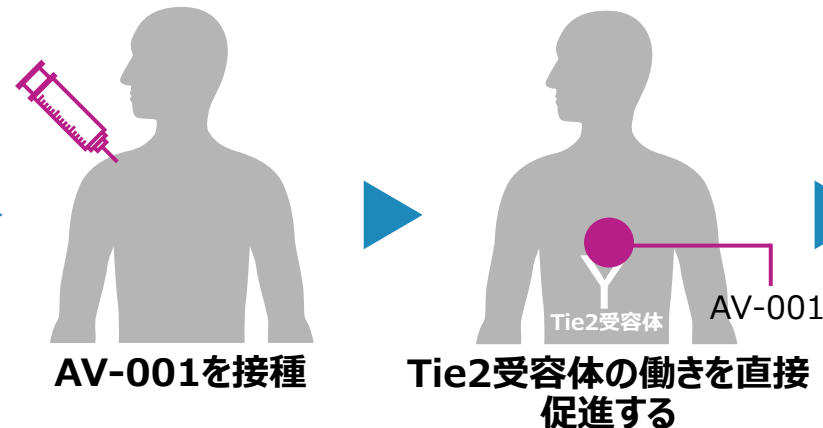
内皮細胞が離れてしまうことにより、肺胞に浸出液が入り込んでしまう。

AV-001のメカニズム（血管の拡大）

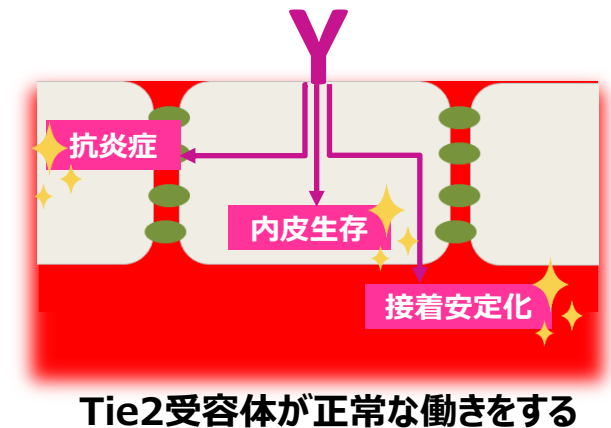
Tie2受容体の働きが抑制されることにより、内皮細胞が離れてしまい、肺胞に浸出液が入ってしまう



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

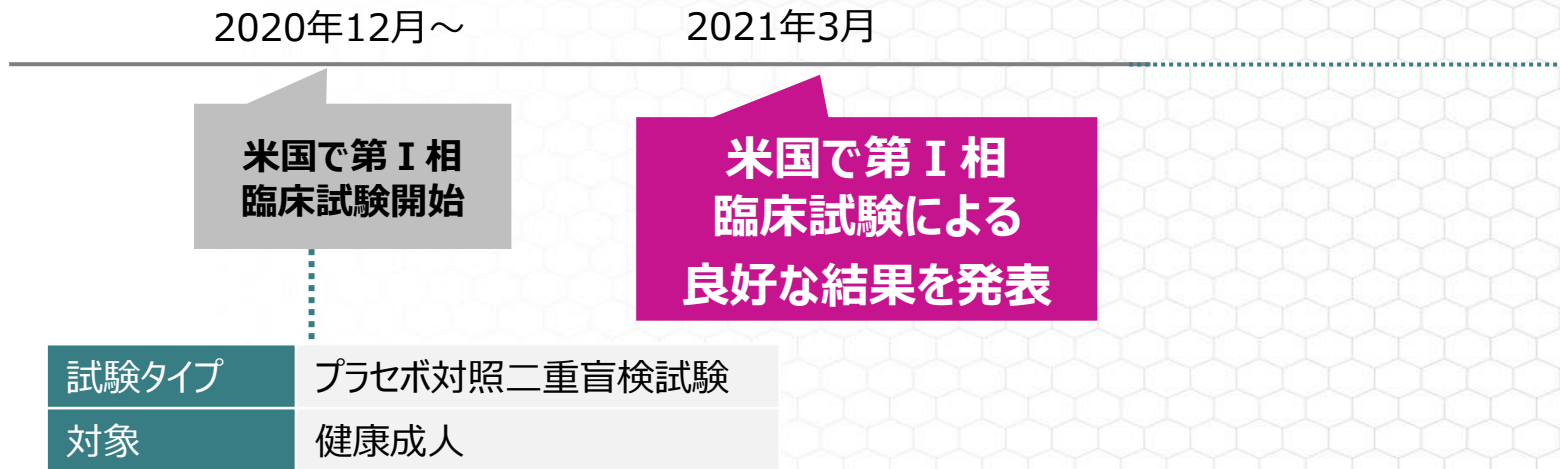


AV-001により、Tie2受容体の働きが正常になる



経過観察後の試験結果を発表（安全性と忍容性を確認）

前期第Ⅱ相臨床試験 準備中



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」 米国で第Ⅰ相臨床試験による良好な結果を発表

- 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

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- κ BデコイオリゴDNAの治験
- 5 高血圧DNAワクチンの治験

今後の方針 (具体的なプロジェクト化に向けて)

社内に専任チームを擁し、
エメンズの経営陣とエメンズの技術を活かした
適応症の選定など、具体的なプロジェクト化に向けて
協議を進めています。

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- κ BデコイオリゴDNAの治験
- 5 高血圧DNAワクチンの治験

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。

“血管を新生する遺伝子治療薬” HGF遺伝子治療用製品「コラテジエン®」

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。



コラテジエン®筋注用 4mg

【薬価】

611,478円/ 1バイアル（1瓶）

【効能、効果又は性能】

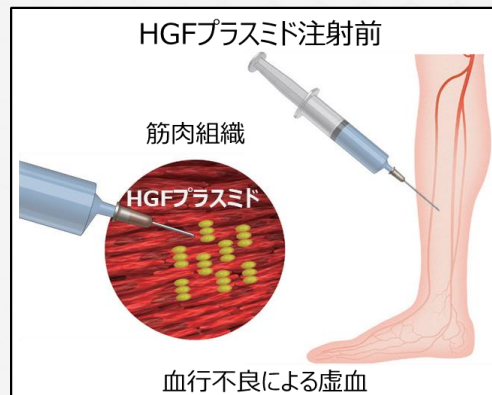
標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善

【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。

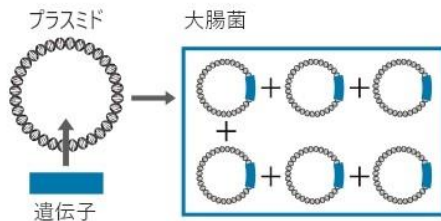
HGF遺伝子治療用製品による血管新生



現在の遺伝子治療の3つの治療方法

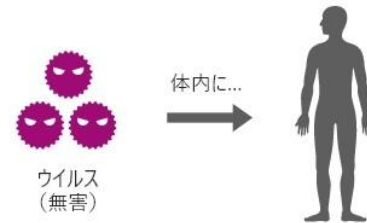
① プラスミド

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



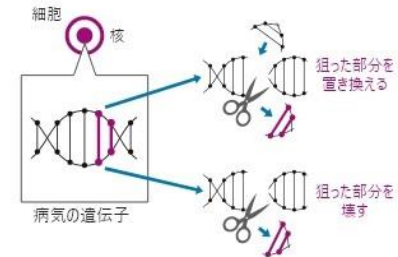
② ウイルスベクター

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



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



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。

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

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。

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 (ヘベルミノゲンペルプラスミド)	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 (ヘベルミノゲンペルプラスミド)	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 (ヘベルミノゲンペルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶	後期 実施中	

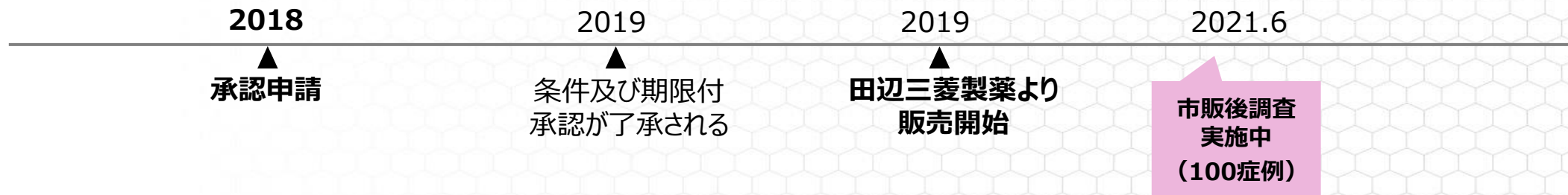
このうち、条件及び期限付き承認制度を活用し、


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6月時点で約100例）

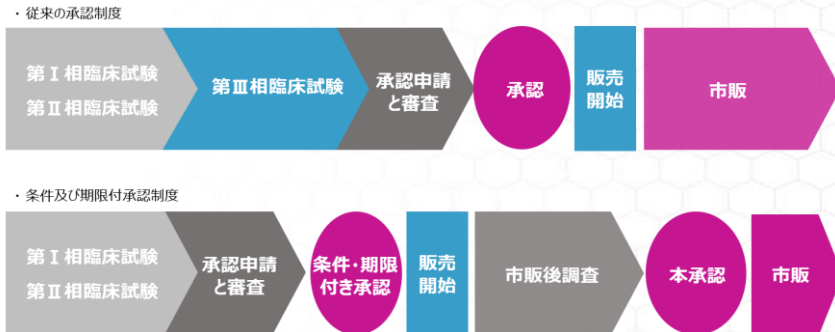
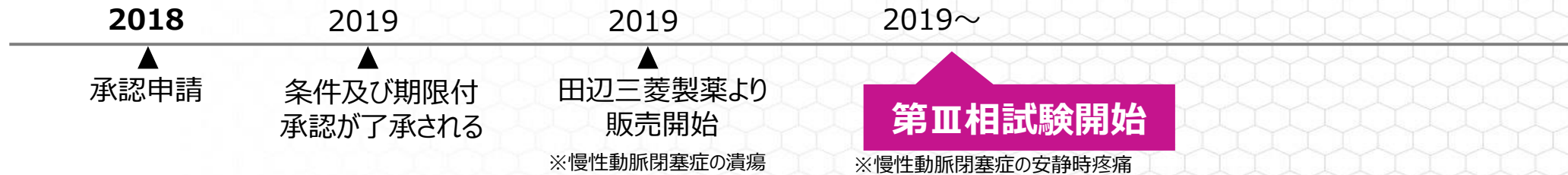
市販後調査は
5年（2024年）以内に120症例
本承認を目指す



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（5年以内に120症例）を実施し、本承認を目指す。（2021年6月時点で約100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。

適応拡大のため、第Ⅲ相臨床試験を実施中。



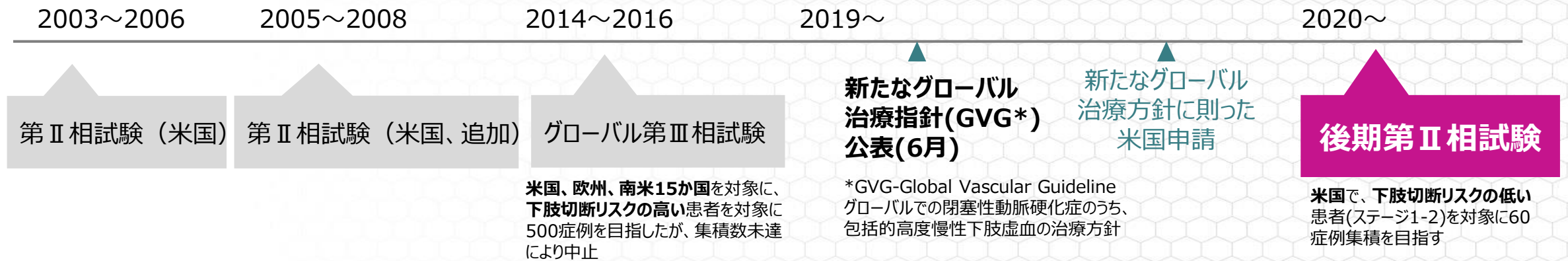
条件及び期限付承認制度を活用し、当製品の適応症拡大

HGF遺伝子治療用製品の適応症拡大となる「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。

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。

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- κ BデコイオリゴDNAの治験**
- 5 高血圧DNAワクチンの治験

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。

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- κ BデコイオリゴDNAの治験
- 5 **高血圧DNAワクチンの治験**

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 / II 相前期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。

「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

アンジェスの経営理念

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。



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？



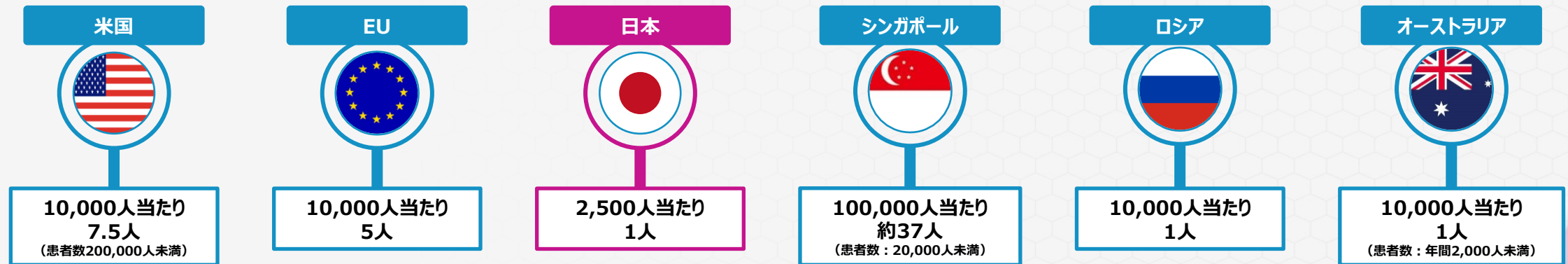
希少疾患の
80%は遺伝性

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）



私たちの希少疾患への取り組み

1999年

2008年 ~ 2019年

2019年~

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「コラテジェン®」



2019年にバイオマリン社日本法人に事業承継

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！

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 さらなる希少疾患への研究・開発プロジェクト化



Ferring社・Rebiotix社と共同で、 細菌性膣炎の治療薬を共同開発を開始

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



2021年2月：マイクロバイオームをベースとした、細菌性膣炎の治療薬を共同開発開始 

細菌性膣炎とは、もともと体内にいる細菌が異常に増殖して膣内で炎症を引き起こす病気で、主な症状は、おりものが増える、おりものの臭いがきつくなる、外陰部に痛みやかゆみ、熱感などがあります。

2020年1月：EIC Accelerator Pilotの資金援助先に選抜

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

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

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

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

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_naglzyme.pdf