

2022年12月期 第3四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

2022年11月8日  
東

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所  
 コード番号 4563 URL <https://www.anges.co.jp/>  
 代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 山田 英  
 問合せ先責任者 (役職名) 経理部長 (氏名) 櫻井 純 (TEL) —  
 四半期報告書提出予定日 2022年11月11日 配当支払開始予定日 —  
 四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無  
 四半期決算説明会開催の有無 : 無

(百万円未満切捨て)

1. 2022年12月期第3四半期の連結業績(2022年1月1日~2022年9月30日)

(1) 連結経営成績(累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2022年12月期第3四半期	45	3.1	△12,455	—	△10,062	—	△10,194	—
2021年12月期第3四半期	44	56.9	△12,163	—	△11,823	—	△11,952	—

(注) 包括利益 2022年12月期第3四半期 △5,803百万円( —%) 2021年12月期第3四半期 △10,359百万円( —%)

	1株当たり 四半期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益
	円 銭	円 銭
2022年12月期第3四半期	△66.60	—
2021年12月期第3四半期	△82.25	—

(注) 当社では、四半期連結損益計算書において事業収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

(2) 連結財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2022年12月期第3四半期	39,895	32,830	82.1
2021年12月期	45,455	38,634	84.8

(参考) 自己資本 2022年12月期第3四半期 32,742百万円 2021年12月期 38,545百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2021年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2022年12月期	—	0.00	—	—	—
2022年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

3. 2022年12月期の連結業績予想(2022年1月1日~2022年12月31日)

2022年12月期の業績予想につきましては、現時点で合理的な業績予想の算定ができないことから、記載しておりません。なお、当該理由等は、添付資料P.6「1. 当四半期決算に関する定性的情報(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

※ 注記事項

(1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動 : 無  
 (連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動)  
 新規 社(社名) 、除外 社(社名)

(2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無

(3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 有
- ② ①以外の会計方針の変更 : 無
- ③ 会計上の見積りの変更 : 無
- ④ 修正再表示 : 無

会計方針の変更に関する注記

(4) 発行済株式数(普通株式)

- ① 期末発行済株式数(自己株式を含む)
- ② 期末自己株式数
- ③ 期中平均株式数(四半期累計)

2022年12月期3Q	153,073,900株	2021年12月期	153,072,400株
2022年12月期3Q	92株	2021年12月期	92株
2022年12月期3Q	153,073,292株	2021年12月期3Q	145,319,310株

※ 四半期決算短信は公認会計士又は監査法人の四半期レビューの対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P.6「1. 当四半期決算に関する定性的情報(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報	2
(1) 経営成績に関する説明	2
(2) 財政状態に関する説明	3
(3) 研究開発活動に関する説明	4
(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明	6
2. 四半期連結財務諸表及び主な注記	7
(1) 四半期連結貸借対照表	7
(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書	9
(3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項	11
(継続企業の前提に関する注記)	11
(会計方針の変更)	11
(重要な後発事象)	11
3. その他	13
継続企業の前提に関する重要事象等	13

## 1. 当四半期決算に関する定性的情報

### (1) 経営成績に関する説明

当社グループ(当社及び連結子会社3社)は、遺伝子の働きを利用した「遺伝子医薬」の開発、実用化を目指し、研究開発を行う創薬系のバイオベンチャーです。遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して、自社における医薬品の開発及び開発パイプラインの拡充のための国内外企業との共同開発、業務提携、資本参加等を積極的に行っています。

当第3四半期連結累計期間の事業収益は前年同期に比べ1百万円増加し45百万円(前年同期比3.1%増)となりました。当社グループでは、コラテジェン®の条件及び期限付製造販売の承認を取得し、2019年9月から田辺三菱製薬株式会社(以下「田辺三菱製薬」といいます。)より販売しておりますが、当面の治療に必要な数量を前年度中に概ね出荷完了しているため、当第3四半期連結累計期間においての製品売上高は7百万円(前年同期比23百万円の減収)となりました。一方、アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(以下「ACRL」といいます。)において前2021年度第3四半期連結会計期間より実施している希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査は安定的に推移し、手数料収入として38百万円(同24百万円の増収)を計上いたしました。

一方、当第3四半期連結累計期間における事業費用は、前年同期に比べ2億93百万円増加し、125億1百万円(同2.4%増)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ34百万円増加し、73百万円(同86.4%増)となりました。これは主に、ACRLにおける希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査にかかる原価を計上したことによります。

研究開発費は、前年同期に比べ37百万円増加し、85億27百万円(同0.4%増)となりました。新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの製造関連費用及びVasomune Therapeutics, Inc. (以下「Vasomune社」といいます。)との共同開発品であるTie2チロシンキナーゼ受容体アゴニスト(AV-001)について共同開発費当社負担分を計上したこと等により、外注費が4億73百万円増加しております。主にEmendo社の人員の増加により、給料手当が2億6百万円増加しております。一方、新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの目標症例の投与が完了したことにより、研究用材料費は4億64百万円減少しております。また、新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの研究にかかる研究用消耗品等の減少により、消耗品費が2億28百万円減少しております。

当社グループのような研究開発型バイオベンチャー企業は先行投資が続きますが、提携戦略などにより財務リスクの低減を図りながら、今後も研究開発投資を行っていく予定です。研究開発の詳細については、本決算短信「(4)研究開発活動」をご参照ください。

販売費及び一般管理費は前年同期に比べ2億21百万円増加し、38億99百万円(同6.0%増)となりました。為替の円安に伴い、Emendo社買収に伴うのれん償却額が前年同期より3億23百万円増加しております。主にEmendo社に関連する弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬が減少したため、支払手数料が前年同期より91百万円減少しております。

この結果、当第3四半期連結累計期間の営業損失は前年同期に比べ2億91百万円拡大し、124億55百万円(前年同期の営業損失は121億63百万円)となりました。

当第3四半期連結累計期間の経常損失は前年同期に比べ17億60百万円縮小し、100億62百万円(前年同期の経常損失は118億23百万円)となりました。国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)より採択された「新型コロナウイルス感染症(COVID-19)に対するワクチン開発」の助成金に関して、すでに入金が行われ前受金に計上しておりましたが、当第3四半期連結累計期間において2021年度分の確定検査結果通知を受領したことから、1億18百万円を前受金から補助金収入に振替えております。また、Vasomune社が米国及びカナダにおいて獲得した助成金について、当社開発費負担分に応じて2億51百万円受領し、補助金収入に計上しております。この結果、補助金収入は3億69百万円となりました。さらに、為替の円安に伴い、外貨預金及びEmendo社への貸付金の評価替を行った結果、為替差益が20億15百万円発生しております(前年同期は3億69百万円の為替差益)。

当第3四半期連結累計期間の親会社株主に帰属する四半期純損失は、17億58百万円改善し、101億94百万円(前年同期の親会社株主に帰属する四半期純損失は119億52百万円)となりました。前年同期においては、ストックオプションの権利行使期間終了による権利失効に伴い新株予約権戻入益を32百万円計上しておりましたが、当期においては発生しておりません。当社が保有する固定資産につきまして、「固定資産の減損に係る会計基準」に基づき、投資額と投資期間全体を通じた回収可能額について比較検討した結果、「医薬品開発ビジネス事業」の固定資産につき1億4百万円を減損損失として計上しております。当社が保有する投資有価証券について、簿価に比べて時価が著しく下落したため、減損処理による投資有価証券評価損6百万円を計上しております(前年同期は1億63百万円の

計上)。

## (2) 財政状態に関する説明

当第3四半期連結会計期間末の総資産は前連結会計年度末に比べ55億60百万円減少し、398億95百万円となりました。国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)より助成金7億74百万円の入金がありましたが、当期事業費用への充当により、現金及び預金は78億47百万円減少し、100億51百万円となりました。コラテジェン®の原薬を製造したことに伴い、原材料及び貯蔵品が3億17百万円増加して15億11百万円となりました。新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの製造が終了したことに伴い、前渡金が12億73百万円減少して4億40百万円となりました。前年度の消費税等の還付により、未収消費税等が1億26百万円減少して2億93百万円となりました。流動資産は89億66百万円減少し、124億59百万円となっております。

当第3四半期会計期間末の固定資産は34億5百万円増加し、274億35百万円となっております。これは主に、のれんが前連結会計年度末に比べ34億93百万円増加して261億69百万円となったことによるものです。のれんの償却による21億6百万円の減少はありましたが、円安による為替変動の影響により56億円増加しております。

当第3四半期連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ2億43百万円増加し、70億64百万円となりました。国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)より採択された「新型コロナウイルス感染症(COVID-19)に対するワクチン開発」に関する助成金が入金され、前受金が6億44百万円増加しております。前年度の費用の支払により、買掛金が1億37百万円、未払金が1億70百万円減少しております。

当第3四半期連結会計期間末の純資産は前連結会計年度末に比べ58億3百万円減少し、328億30百万円となりました。親会社株主に帰属する四半期純損失101億94百万円の計上により、利益剰余金が減少しております。主にのれんに係る為替変動の影響により、為替換算調整勘定が44億3百万円増加しております。

### (3) 研究開発活動に関する説明

当第3四半期連結累計期間における研究開発費は85億27百万円(前年同期比37百万円(0.4%)の増加)となりました。

当第3四半期連結累計期間における研究開発活動では、2022年9月7日に発表いたしました「HGF遺伝子治療用製品の慢性動脈閉塞症における安静時疼痛の適応追加に向けた国内開発の中止に関するお知らせ」、「新型コロナウイルス感染症(武漢型)向けDNAワクチンの開発中止及び新型コロナウイルス感染症の変異株に対する改良型DNAワクチン並びにその経鼻投与製剤の研究開始に関するお知らせ」及び「改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤に関する米国スタンフォード大学との共同研究契約の締結について」のとおり、既存開発品の開発中止並びに改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤の共同研究を開始いたしました。

## 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	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					
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミノゲンペルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	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	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 (ベベルミノゲンペルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	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-κBデコイオリゴDNA	米国	—	注射剤	腰痛症			完了				
DNAワクチン	オーストラリア	—	注射剤	高血圧			完了				
DNAワクチン	国内外	—	経鼻投与	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 (共同開発)		COVID-19 および 急性呼吸窮迫症候群			完了	前期実施中			
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger(導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL)			導入品			申請準備中	

※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型肝炎治療薬があります。

\*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PL」：プロジェロイド・ラミノパチー

#### ■HGF遺伝子治療用製品(一般名：ベベルミノゲンペルプラスミド)(自社品)

HGF遺伝子治療用製品は、当社が設立以来手がけてきた主力のプロジェクトで、重症下肢虚血を対象とした開発を進め、再生医療等製品として2019年3月26日、厚生労働省から重症下肢虚血の潰瘍の改善の効能効果で条件及び期限付製造販売承認を取得し、国内初の遺伝子治療用製品「コラテジェン®」として2019年9月10日より発売を開始いたしました。現在、製造販売後調査を実施しており、本承認に向けた申請準備を進めております。

なお、日本における安静時疼痛に対する適応追加につきましては、2022年9月7日の発表のとおり、主要評価項目である二重盲検試験期(ステージ1)において12週後の安静時疼痛(VAS)の投与前値からの変化量においてプラセボ群に対して有意差を見出せなかったことから、開発の中止を決定いたしました。しかしながら、重症下肢虚血の潰瘍の改善についての製造販売後調査につきましては、本承認に向けた申請の準備を進めております。

また、米国における慢性動脈閉塞症の下肢潰瘍患者を対象とした第II相臨床試験も概ね計画に沿って進捗しており、承認申請に向けて今後も開発を継続してまいります。

田辺三菱製薬と当社は、HGF遺伝子治療用製品「コラテジェン®」の販売に関し、日本及び米国における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結しており、同社が販売を担当いたします。

#### ■NF-κBデコイオリゴDNA(自社品)

当社は、椎間板性腰痛症を含む腰痛疾患を適応症とした核酸医薬NF-κBデコイオリゴDNAの開発を米国において進めております。2018年2月より椎間板性腰痛症を対象とした後期第I相臨床試験は、投与後の観察期間6カ月間に続き、12ヶ月間を経た結果でも、患者の忍容性は高いうえ、重篤な有害事象も認められず、安全性を確認しております。さらに、探索的にデータを評価したところ、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められ、有効性も確認いたしました。現在、今後の開発方針を検討しております。

■高血圧DNAワクチン（自社品）

当社は、血圧上昇作用を持つ体内物質である「アンジオテンシンⅡ」に対する抗体を体内で作出し、その働きを抑えることで高血圧を治療することを目的に高血圧治療用DNAワクチンの開発を進めております。オーストラリアでの第Ⅰ相/前期第Ⅱ相臨床試験は投与後の初期の試験結果の評価を行ったところ、重篤な有害事象はなく、安全性に問題がないことを確認し、アンジオテンシンⅡに対する抗体産生を認めました。分析結果は、論文としHypertension Researchに掲載し、第43回日本高血圧学会総会Late Breaking Abstractでも発表いたしました。今後、安全性、免疫原性及び有効性を評価する試験の実施に向けて継続的に検討を行ってまいります。

■新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチン（自社品）

当社は、プラスミドDNAの技術を用いて2020年3月より大阪大学と共同で新型コロナウイルス感染症に対する予防ワクチンの開発を開始し、これまでに第Ⅰ/Ⅱ相及び第Ⅱ/Ⅲ相の臨床試験を実施いたしました。さらに有効性を高めるための取り組みとして、高用量製剤での第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を、接種方法を筋肉注射と皮内投与の2種類とし、2021年11月に目標症例の接種を完了いたしました。

2022年9月7日の発表のとおり、臨床試験の速報データにより、安全性については確認されたものの、高用量製剤は当初開発した初期のワクチンよりも免疫原性は増強したものの、筋肉内接種群と皮内接種群いずれにおいても、主要評価項目である、12週後のSARS-CoV-2のシュードウイルスに対する中和活性及び12週後のSARS-CoV-2スパイク(S)糖タンパク質特異的抗体価が期待する水準には至らなかったことから、開発の中止を決定いたしました。

一方、同日の発表のとおり、当社は、スタンフォード大学と同大学医学部教授であるDr. Ramasamy Paulmurugan及びDr. Tarik Massoudが開発した「Gold-Nanostar Octopod」技術を活用し、新型コロナウイルス感染症を含むウイルス性肺疾患に対し、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤の共同研究を開始いたしました。

■Tie2チロシンキナーゼ受容体アゴニスト（新型コロナウイルス感染症治療薬）（共同開発品）

当社は、カナダのバイオ医薬品企業であるVasomune社と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を共同開発しております。Tie2チロシンキナーゼ受容体アゴニスト（AV-001）は、新型コロナウイルス感染症治療薬として、2020年12月より健康成人を対象とした第Ⅰ相臨床試験を米国において実施し、安全性と忍容性を認め、良好な結果を確認いたしました。2022年1月より前期第Ⅱ相臨床試験を米国で実施しております。

■Zokinvy（一般名：ロナファルニブ）（導入品）

当社は2022年5月10日に米国の医薬品企業であるEiger BioPharmaceuticals Inc.（以下「Eiger社」といいます。）と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェクト症候群とプロジェクト・ラミノパチーの適応症の治療薬であるZokinvyについて、日本における独占販売契約を締結しました。当社は、一日も早い薬事承認・薬価収載を目指し、国内承認取得の準備を進めております。

■Emendo社のプロジェクトの状況

プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE関連重症先天性好中球減少症	▶			
		血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患	▶			

■ゲノム編集技術による遺伝子治療用製品開発

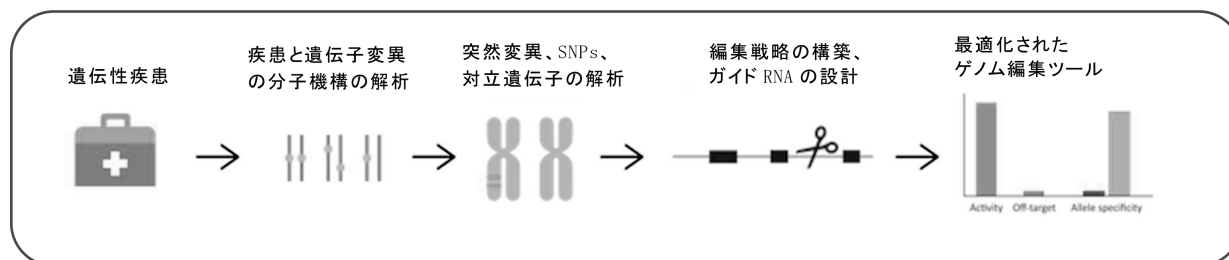
当社は、究極の遺伝子治療法ともいわれるゲノム編集技術を用いた遺伝子疾患治療に挑むため、2020年12月にゲノム編集における先進技術及びそれを活用した開発パイプラインを持つEmendo社を子会社化いたしました。Emendo社では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼ（※1）を探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、ゲノム編集でしばしば問題視される「オフターゲット効果」（※2）を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNIヌクレアーゼ）を数多く作出し、特許を出願しております。Emendo社ではOMNI Platformの更なる性能向上、効率化を目指した開発を継続しております。

同時にEmendo社では、様々な遺伝子疾患について、その疾患と遺伝子変異の分子機構の理解に基づき、疾患に応じてゲノム編集戦略を構築し、数多くのOMNIヌクレアーゼの中から適切なヌクレアーゼを選択し、それをさらに標的配列に対して最適化して、これまでゲノム編集では対象とできなかった疾患を含め、様々な疾患に対する安全で有効な治療の開発を進めております。

なかでも、ELANE（好中球エラスターゼ遺伝子）の異常によるELANE関連重症先天性好中球減少症（※3）を対象

とするゲノム編集治療については、米国での治験に向け、FDAと協議を開始しております。ELANE関連重症先天性好中球減少症では、対になっている遺伝子配列の一方のみの変異により発症するため、その治療は、ほとんど同じ配列をもつ対の遺伝子のうち、変異のある遺伝子のみを破壊するという非常に精度の高いゲノム編集が必要となります。

- ※1 新規CRISPRヌクレアーゼ：ゲノム編集で使用する新たなRNA誘導型DNA切断酵素で、ガイドRNAで規定した塩基配列を識別し、その標的とした塩基配列を切断する。
- ※2 オフターゲット効果：ゲノム編集で、DNA鎖上の目的とする塩基配列以外の別の領域に、意図せぬ突然変異を引き起こしてしまうこと。
- ※3 ELANE関連重症先天性好中球減少症：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、発症すると細菌感染などが起きやすくなり、中耳炎や気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を繰り返し、敗血症などにより死亡することもある。



## その他の研究開発の状況

### ■マイクロバイオームを用いた治療薬・サプリメントなどの開発

当社は、腸内細菌叢を利用した疾患治療薬や健康維持のサプリメントを開発しているイスラエルのMyBiotics Pharma Ltd. (以下「MyBiotics社」といいます。)と2018年7月に資本提携しております。MyBiotics社では、腸内細菌叢の微生物の構成を再現した培養物 (SuperDonor) の製造法を確立しており、クロストリジウム・ディフィシル感染症の治療薬MBX-SD-202の第1相臨床試験をイスラエルにおいて完了し、今後の開発を米国で実施するべく、FDAと協議を行っております。

## (4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

当社は、創薬ベンチャーとして1999年の創業以来、遺伝子治療を中心に医薬品開発に取り組んでおります。

製品化するまでには、長い年月を要する医薬品開発において、当社は、HGF遺伝子治療用製品、新型コロナウイルス感染症関連医薬品、腰痛症や高血圧を適応症とした医薬品などの開発を継続しております。

収益に関して、営業外収益としている新型コロナウイルスワクチン開発助成金の計上認識時期が一部来年度に持ち越される可能性があり、現時点で2022年度の収益としての算出が困難であるため通期の業績予想は開示を見合わせることにいたします。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。

### <新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチン開発に関する助成金について>

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は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) より採択された「新型コロナウイルス感染症 (COVID-19) に対するワクチン開発」及び厚生労働省より採択された「ワクチン生産体制等緊急整備事業」があります。半期または四半期ごとに入金される助成金は、入金時に前受金として計上し、採択内容に沿って当社からワクチン開発に使用した経費について明細の申告を行います。その申告内容について、適正な執行確保のための検査が適時実施され、申告額が確定した時点で前受金から営業外収益 (補助金収入) へ振り替えております。今後も、本助成金は、検査によって申告額確定時に営業外収益 (補助金収入) となりますが、現時点で検査時期が未確定なことに加え当社の会計年度は12月に対しAMED等の会計年度が3月であることから、営業外収益認識時期の特定が困難な状況にあります。



## 2. 四半期連結財務諸表及び主な注記

## (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2021年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2022年9月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	17,899,341	10,051,965
売掛金	10,264	11,221
製品	29,120	5,755
原材料及び貯蔵品	1,194,629	1,511,833
前渡金	1,714,027	440,567
前払費用	89,435	69,106
未収消費税等	419,878	293,147
その他	69,446	76,216
流動資産合計	21,426,143	12,459,814
固定資産		
有形固定資産		
建物	202,299	114,413
減価償却累計額	△23,566	△31,363
建物(純額)	178,733	83,050
工具、器具及び備品	83,400	57,388
減価償却累計額	△68,805	△49,787
工具、器具及び備品(純額)	14,594	7,601
有形固定資産合計	193,328	90,651
無形固定資産		
のれん	22,675,739	26,169,660
無形固定資産合計	22,675,739	26,169,660
投資その他の資産		
投資有価証券	878,706	854,226
敷金及び保証金	97,834	103,985
繰延税金資産	110,510	127,825
その他	73,484	89,183
投資その他の資産合計	1,160,535	1,175,220
固定資産合計	24,029,603	27,435,532
資産合計	45,455,746	39,895,346

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2021年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2022年9月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
買掛金	720,706	582,789
未払金	636,748	466,402
未払費用	80,363	93,772
未払法人税等	134,319	66,673
前受金	5,119,753	5,764,004
預り金	41,542	12,829
流動負債合計	6,733,433	6,986,471
固定負債		
繰延税金負債	19,097	13,771
資産除去債務	68,474	64,289
固定負債合計	87,571	78,060
負債合計	6,821,005	7,064,531
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	33,359,568	33,360,150
資本剰余金	15,680,893	15,681,474
利益剰余金	△12,435,475	△22,630,286
自己株式	△31	△31
株主資本合計	36,604,955	26,411,306
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	36,441	24,230
為替換算調整勘定	1,904,012	6,307,106
その他の包括利益累計額合計	1,940,453	6,331,337
新株予約権	89,332	88,171
純資産合計	38,634,741	32,830,814
負債純資産合計	45,455,746	39,895,346

## (2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書

## 四半期連結損益計算書

## 第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2021年1月1日 至 2021年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年9月30日)
<b>事業収益</b>		
製品売上高	30,807	7,735
手数料収入	13,714	38,170
事業収益合計	44,522	45,905
<b>事業費用</b>		
売上原価	39,392	73,436
研究開発費	8,490,503	8,527,789
販売費及び一般管理費	3,678,017	3,899,947
事業費用合計	12,207,914	12,501,173
営業損失(△)	△12,163,392	△12,455,267
<b>営業外収益</b>		
受取利息	523	1,548
為替差益	369,598	2,015,615
補助金収入	31,792	369,942
受取手数料	8,902	6,776
投資事業組合運用益	26,343	-
雑収入	391	6,235
営業外収益合計	437,552	2,400,118
<b>営業外費用</b>		
株式交付費	96,141	6,988
投資事業組合運用損	-	806
新株予約権発行費	1,798	-
営業外費用合計	97,939	7,794
経常損失(△)	△11,823,779	△10,062,943
<b>特別利益</b>		
新株予約権戻入益	32,844	-
特別利益合計	32,844	-
<b>特別損失</b>		
減損損失	-	104,800
投資有価証券評価損	163,203	6,048
特別損失合計	163,203	110,849
税金等調整前四半期純損失(△)	△11,954,138	△10,173,792
法人税、住民税及び事業税	22,758	26,152
法人税等調整額	△23,988	△5,133
法人税等合計	△1,229	21,019
四半期純損失(△)	△11,952,909	△10,194,811
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)	△11,952,909	△10,194,811

四半期連結包括利益計算書  
第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2021年1月1日 至 2021年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年9月30日)
四半期純損失(△)	△11,952,909	△10,194,811
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	△6,518	△12,210
為替換算調整勘定	1,600,199	4,403,094
その他の包括利益合計	1,593,680	4,390,883
四半期包括利益	△10,359,228	△5,803,928
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△10,359,228	△5,803,928
非支配株主に係る四半期包括利益	-	-

(3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(会計方針の変更)

(収益認識に関する会計基準等の適用)

「収益認識に関する会計基準」(企業会計基準第29号 2020年3月31日。以下「収益認識会計基準」という。)等を第1四半期連結会計期間の期首から適用し、約束した財又はサービスの支配が顧客に移転した時点で、当該財又はサービスと交換に受け取ると見込まれる金額で収益を認識することといたしました。

収益認識会計基準等の適用については、収益認識会計基準第84項ただし書きに定める経過的な取扱いに従っており、第1四半期連結会計期間の期首より前に新たな会計方針を遡及適用した場合の累積的影響額を、第1四半期連結会計期間の期首の利益剰余金に加減し、当該期首残高から新たな会計方針を適用しております。

この結果、当第3四半期連結累計期間の損益への影響はありません。また、利益剰余金の当期首残高への影響はありません。

また、「四半期財務諸表に関する会計基準」(企業会計基準第12号 2020年3月31日)第28-15項に定める経過的な取扱いに従って、前第3四半期連結累計期間に係る顧客との契約から生じる収益を分解した情報を記載しておりません。

(時価の算定に関する会計基準等の適用)

「時価の算定に関する会計基準」(企業会計基準第30号 2019年7月4日。以下「時価算定会計基準」という。)等を第1四半期連結会計期間の期首から適用し、時価算定会計基準第19項及び「金融商品に関する会計基準」(企業会計基準第10号 2019年7月4日)第44-2項に定める経過的な取扱いに従って、時価算定会計基準等が定める新たな会計方針を、将来にわたって適用することといたしました。これによる四半期連結財務諸表に与える影響はありません。

(重要な後発事象)

1. 第三者割当による第42回新株予約権の発行決議と発行について

当社は、2022年9月26日開催の取締役会において、以下のとおり第三者割当による第42回新株予約権(行使価額修正条項付)(以下「本新株予約権」といい、かかる本新株予約権の発行を以下「本第三者割当」といいます。)の発行を決議いたしました。同年10月12日に新株予約権の発行を行い、Cantor Fitzgerald & Co.より払込金額の総額(50,920千円)の払込が完了しております。

なお、第42回新株予約権(第三者割当て)(行使価額修正条項付)の概要は以下のとおりであります。

(1)	割当日	2022年10月12日
(2)	行使期間	2022年10月13日から2024年10月15日まで
(3)	新株予約権の総数	380,000個(本新株予約権1個当たりの目的となる株式の数は100株)
(4)	目的となる株式の種類及び数	当社普通株式 38,000,000株
(5)	発行価額	新株予約権1個につき134円(総額50,920千円)
(6)	当該発行による潜在株式数	潜在株式数: 38,000,000株(新株予約権1個につき100株) 上限行使価額はありませぬ。 下限行使価額は下記(8)記載のとおりですが、下限行使価額においても、潜在株式数は38,000,000株です。
(7)	資金調達の額(差引手取概算額)	①払込金額の総額 8,562,920千円 (内訳) 本新株予約権の発行による調達額 50,920千円 新株予約権の行使に際して払い込むべき金額の合計額 8,512,000千円 ②発行諸費用の概算額 53,000千円 ③差引手取概算額 8,509,920千円

(8)	行使価額及び行使価額の修正条件	当初224円。 行使価額は、2022年10月13日以降、毎週火曜日（以下「修正日」といいます。）の直前取引日の株式会社東京証券取引所（以下「東証」といいます。）における当社普通株式の普通取引の終値（同日に終値がない場合は、その直前の終値）の90%に相当する金額の1円未満の端数を切り上げた金額（以下「修正日価額」といいます。）が、当該修正日の直前に有効な行使価額を1円以上上回る場合又は下回る場合には、行使価額は、当該修正日以降、当該修正日価額に修正されます。但し、当該修正後の価額が124円（以下「下限行使価額」といい、調整されることがあります。）を下回ることとなる場合には、下限行使価額を修正後の行使価額とします。なお、「取引日」とは、東証において売買立会が行われる日をいいます。別段の記載がなされる場合を除き、以下同じです。
(9)	募集又は割当方法（割当予定先）	Cantor Fitzgerald & Co.に対する第三者割当方式
(10)	新株予約権の行使により株式を発行する場合の株式の発行価格及び資本組入額	①本新株予約権の行使により株式を発行する場合において増加する資本金の額は、会社計算規則第17条に従い算出される資本金等増加限度額の2分の1の金額とし、計算の結果1円未満の端数が生じたときは、その端数を切り上げるものとする。 ②本新株予約権の行使により株式を発行する場合において増加する資本準備金の額は、前号記載の資本金等増加限度額から前号に定める増加する資本金の額を減じた額とする。
(11)	資金の使途	①Emendo社の運営資金 6,000百万円 ②事業基盤の強化のための資金 2,510百万円（内訳） (a) HGF遺伝子治療用製品のグローバル展開に対応可能な製法、生産プロセスの効率化を企図する研究開発費用 1,000百万円 (b) 新規製品・プロジェクトの獲得による事業基盤の強化、既存開発品の適応症拡大・グローバル展開 1,510百万円

## 2. 新株予約権の行使

当社が発行いたしました第42回新株予約権につき、2022年10月19日から2022年11月4日までに、以下のとおり行使されております。

行使新株予約権個数	75,000個（発行総数の19.74%）
交付株式数	7,500,000株
行使価額総額	1,161,500千円
未行使新株予約権個数	305,000個
増加する発行済株式数	7,500,000株
資本金増加額 ※1、2	585,775千円
資本剰余金増加額 ※1、2	585,775千円

※1. 資本金増加額、資本剰余金増加額には新株予約権の振替額5,025千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権の行使による新株の発行の結果、2022年11月4日現在の発行済株式総数は160,573,900株、資本金は33,945,925千円、資本剰余金は16,267,249千円となっております。

### 3. その他

#### 継続企業の前提に関する重要事象等

医薬品事業は、製品化までに多額の資金と長い時間を要する等の特性があり、創業ベンチャーである当社グループにおいては、継続的な営業損失の発生及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上している状況にあります。そのため、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような状況が存在しております。

当社グループは当該状況を解消すべく、下記を重要な課題として取り組んでおります。

#### ①自社既存プロジェクトの推進

当社グループでは、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品「コラテジェン®」の条件及び期限付承認を厚生労働省から取得し、同年9月から販売を開始いたしました。現在、製造販売後承認条件評価を行うとともに米国では閉塞性動脈硬化症を対象とした臨床試験を進めております。また、現在海外で臨床試験を進めております椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA、高血圧DNAワクチンの開発、及びスタンフォード大学との新型コロナウイルス感染症の変異株に対する改良型DNAワクチンとその経鼻投与製剤の共同研究、Vasomune社と共同開発している急性呼吸不全など血管の不全を対象とする治療薬のプロジェクトを推進しております。これらのプロジェクトを確実に推進していくことが最優先課題であると考えております。

#### ②開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループはゲノム編集における先進技術を持つ子会社のEmendo社において、究極の遺伝子治療ともいわれるゲノム編集で具体的なプロジェクト化に向けて準備を進めています。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼを探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、本技術の更なる性能向上、効率化を目指した開発を継続しております。同時にEmendo社では、様々な遺伝子疾患について、その疾患と遺伝子変異の分子機構の理解に基づき、疾患に応じてゲノム編集戦略を構築し、数多くのOMNIヌクレアーゼの中から適切なヌクレアーゼを選択し、それをさらに標的配列に対して最適化して、これまでゲノム編集では対象とできなかった疾患を含め、様々な疾患に対する安全で有効な治療の開発を進めております。

当社は米国の医薬品企業であるEiger社と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロジェロイド・ラミノパチーの適応症の治療薬であるZokinvyについて、日本における独占販売契約を締結し、一日も早い薬事承認・薬価収載を目指し、国内承認取得の準備を進めております。

また、昨年開設いたしましたACRLの「希少遺伝性疾患のオプショナルスクリーニング検査」は安定的に推移しております。

これらの開発パイプラインの拡充や事業基盤の拡大により、当社グループは遺伝子治療の世界でグローバルリーダーを目指します。

今後も、ライセンス導入や共同開発、創薬プラットフォーム技術の獲得を目指した事業提携に加え、他社に対する資本参加や他社の買収等により開発品パイプラインの拡充による事業基盤の拡大を図り、将来の成長を実現してまいります。

#### ③開発プロジェクトにおける提携先の確保

当社グループでは、開発プロジェクトのリスクを低減するために、製薬会社と提携し、契約金・マイルストーンや開発協力金を受け取ることで財務リスクを低減しながら開発を進めるという提携モデルを基本方針としております。

「コラテジェン®」について日本と米国を対象とした独占的販売契約を田辺三菱製薬と締結しており、マイルストーン収入やロイヤリティ収入が見込めます。また、2019年2月にイスラエルにおけるHGF遺伝子治療用製品「コラテジェン®」の独占的販売権の許諾について同国Kamada社と基本合意書を締結しております。さらに2020年10月にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うトルコのEr-Kim社と「コラテジェン®」のトルコでの導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書を締結しました。また、本年5月に米国の医薬品企業であるEiger社と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロジェロイド・ラミノパチーの適応症の治療薬であるZokinvyについて、日本における独占販売契約を締結しました。今後も、製薬会社との提携を進めることにより、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

（新株予約権発行による入金を含む）当社グループにとって、研究開発活動及び事業基盤の拡大を推進することは継続的な発展のために重要であり、そのためには状況に応じ機動的に資金調達を行うことが必要となります。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権（第三者割当て）について

2022年11月4日までにその一部が行使され、12億12百万円（新株予約権発行による入金を含む）調達いたしました。今後も、研究開発活動推進及び企業維持のために必要となる資金調達の可能性を適宜検討してまいります。

これら諸施策の実施により、継続企業の前提に関する重要な不確実性は認められないと判断しております。