



## 2023年12月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

2023年8月9日

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所 東  
 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 2023年8月14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 : 有  
 四半期決算説明会開催の有無 : 有 (機関投資家・アナリスト 向け )  
 (百万円未満切捨て)

## 1. 2023年12月期第2四半期の連結業績(2023年1月1日~2023年6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	%
2023年12月期第2四半期	51	60.7	△5,951	—	△4,776	—	△4,830	—
2022年12月期第2四半期	31	38.1	△9,124	—	△7,420	—	△7,425	—

(注) 包括利益 2023年12月期第2四半期 △3,635百万円(—%) 2022年12月期第2四半期 △4,121百万円(—%)

	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
2023年12月期第2四半期	△26.09	—
2022年12月期第2四半期	△48.51	—

(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	%
2023年12月期第2四半期	36,790	27,887	75.5
2022年12月期	38,820	30,425	78.1

(参考) 自己資本 2023年12月期第2四半期 27,767百万円 2022年12月期 30,324百万円

## 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
2022年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2023年12月期	—	0.00	—	—	—
2023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. 2023年12月期の連結業績予想(2023年1月1日~2023年12月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する当期純利益	1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	円 銭
通期	190	183.3	△13,500	—	△7,500	—	△7,500	△40.29

(注) 直近に公表されている業績予想からの修正の有無 : 有

(注) 当社では、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。

※ 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
- (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

(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）	2023年12月期 2 Q	187,223,900株	2022年12月期	178,623,900株
② 期末自己株式数	2023年12月期 2 Q	92株	2022年12月期	92株
③ 期中平均株式数（四半期累計）	2023年12月期 2 Q	185,101,985株	2022年12月期 2 Q	153,073,029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) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書	11
(4) 四半期連結財務諸表に関する注記事項	12
(継続企業の前提に関する注記)	12
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	14
(会計方針の変更)	14
(重要な後発事象)	15
3. その他	17
継続企業の前提に関する重要事象等	17

## 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2四半期連結累計期間の事業収益は前年同期に比べ19百万円増加し51百万円(前年同期比60.7%増)となりました。当社グループでは、HGF遺伝子治療用製品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。2023年5月31日に条件解除に向けた製造販売承認申請を提出いたしましたが、当第2四半期連結累計期間においては、これまで同様、複数診療科で重症下肢虚血の治療を行っている専門医のいる病院のみでの使用となっていることから、製品売上高は11百万円(同7百万円の増加)となっております。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。)においては、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会(以下「CReARID」といいます。)が展開する拡大新生児スクリーニングである「オプションスクリーニング」を受託しており、前年同期に比べ受託数が順調に増加していることから手数料収入として39百万円(同11百万円の増加)を計上いたしました。今年7月には、拡大新生児スクリーニングの問い合わせ窓口を開設し、来期から各地の自治体や関係機関からの新たな受託を目指しております。

当第2四半期連結累計期間における事業費用は、前年同期に比べ31億53百万円減少し、60億2百万円(同34.4%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ21百万円増加し、58百万円(同58.8%増)となりました。当第2四半期連結累計期間におけるコラテジェンの製品売上原価は11百万円(同9百万円の増加)となりました。使用期限切れによる廃棄が見込まれる製品の評価損3百万円を製品売上原価に計上しております。ACRLにおけるオプションスクリーニングにかかる原価は、新規検査機器購入による減価償却額等の計上により前年同期に比べ12百万円増加し、46百万円(同36.1%増)となっております。

研究開発費は、前年同期に比べ34億53百万円減少し、31億64百万円(同52.2%減)となりました。2020年度よりプラスミドDNAの技術を用いた新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの開発を開始し、臨床試験及び非臨床試験を実施してはいたしましたが、昨年度にこれまでのワクチン開発の中止を決定しております。これにより研究用材料費が4億77百万円、外注費が32億46百万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「(3) 研究開発活動に関する説明」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2億77百万円増加し、27億80百万円(同11.1%増)となりました。為替の円安に伴い、EmendoBio, Inc.(以下「Emendo社」といいます。)買収に伴うのれん償却額が前年同期より1億29百万円増加しております。Emendo社における弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬が増加したため、支払手数料が前年同期より93百万円増加しております。

この結果、当第2四半期連結累計期間の営業損失は59億51百万円(前年同期の営業損失は91億24百万円)となりました。

当第2四半期連結累計期間の経常損失は47億76百万円(前年同期の経常損失は74億20百万円)となりました。外貨預金及びEmendo社への貸付金の評価替を行った結果、円安による為替変動の影響により、為替差益が10億89百万円発生しております(前年同期は14億89百万円の為替差益)。Vasomune Therapeutics, Inc.(以下「Vasomune社」といいます。)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74百万円を受領し、補助金収入に計上しております(前年同期は2億2百万円)。

当第2四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48億30百万円(前年同期の親会社株主に帰属する四半期純損失は74億25百万円)となりました。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1百万円を計上しております。また、当期法人税等を52百万円計上しております(前年同期は5百万円)。

## (2) 財政状態に関する説明

## ① 資産、負債、純資産の状況

当第2四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20億29百万円減少し、367億90百万円となりました。

流動資産は30億51百万円減少し、98億44百万円となっております。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）についてその一部が行使され、10億66百万円を調達いたしました。現金及び預金は当期事業費用等により32億68百万円減少し、77億66百万円となりました。コラテジェンの販売用製品を製造したことにより、製品が1億2百万円増加しております。コラテジェンの原薬を製造したことにより、原材料及び貯蔵品が4億34百万円増加して14億39百万円となりました。前年度の消費税が還付されたことにより、未収消費税等が2億94百万円減少しております。

当第2四半期連結会計期間末の固定資産は10億21百万円増加し、269億45百万円となっております。円安による為替変動の影響により、Emendo社における使用権資産の円換算額が1億1百万円増加しております。のれんが前連結会計年度末に比べ5億65百万円増加して238億20百万円となりました。のれんの償却により14億78百万円減少しておりますが、円安による為替変動の影響により米ドル建のれんの円換算額が20億44百万円増加しました。主にVasomune社が発行する株式への出資により、投資有価証券が2億99百万円増加して12億21百万円となっております。

当第2四半期連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ5億8百万円増加し、89億3百万円となりました。前受金が6億37百万円増加して64億1百万円となりました。主に提携先より研究開発費用の一部を協力金として受領し、前受金に計上したことによる増加となります。

当第2四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25億38百万円減少し、278億87百万円となりました。第42回新株予約権の行使により、資本金及び資本剰余金がそれぞれ5億38百万円増加しております。親会社株主に帰属する四半期純損失48億30百万円を利益剰余金に計上しております。2023年3月30日開催の第24期定時株主総会において、資本金及び資本準備金の額の減少並びに剰余金の処分について決議し、資本金を11億25百万円減少、資本準備金を150億76百万円減少、繰越利益剰余金を162億2百万円増加させ、欠損の填補に充当いたしました。これにより、資本金は345億59百万円、資本剰余金は29億29百万円、利益剰余金は△157億78百万円となっております。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11億77百万円増加しております。新株予約権は19百万円増加して1億20百万円となっております。Cantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権について、その一部が行使されましたが、2023年4月24日に公表いたしましたとおり、未行使の新株予約権を取得し、消却しております。Emendo社において従業員に対しストックオプションを発行しております。

## ② キャッシュ・フローの状況

当第2四半期連結会計期間末における現金及び現金同等物（以下、「資金」といいます。）は、前連結会計年度末に比べ32億71百万円減少し、76億98百万円となりました。当第2四半期連結累計期間のキャッシュ・フローの状況は次のとおりです。

## (営業活動によるキャッシュ・フロー)

当第2四半期連結累計期間における営業活動による資金の減少は、41億98百万円(前年同期は54億83百万円の減少)となりました。のれん償却費を14億78百万円計上し、未収消費税等が2億94百万円減少、前受金が6億37百万円増加しましたが、税金等調整前四半期純損失47億77百万円に加え、為替差益を10億46百万円計上し、棚卸資産が5億37百万円増加、仕入債務が93百万円減少、未払金が72百万円減少しております。その結果、前年同期と比べ、12億85百万円の支出減少となっております。

## (投資活動によるキャッシュ・フロー)

当第2四半期連結累計期間における投資活動による資金の減少は、3億14百万円(前年同期は13百万円の減少)となりました。Vasomune社が発行する株式への出資により、投資有価証券の取得による支出が2億75百万円発生しております。ACRLにおける新規検査機器の購入により、有形固定資産の取得による支出が47百万円発生しております。

## (財務活動によるキャッシュ・フロー)

当第2四半期連結累計期間における財務活動による資金の増加は、10億55百万円(前年同期は0百万円の増加)となりました。Cantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権についてその一部が行使され、新株予約

権の行使による株式の発行による収入が10億60百万円となっております。

(3) 研究開発活動に関する説明

当社グループは、“遺伝子医薬のグローバルリーダー”を目指し、遺伝子医薬を中心に医薬品の開発、実用化に取り組んでおります。また、究極の遺伝子治療といわれるゲノム編集は、これまで治療の難しかった疾患を対象とした研究開発が進められていますが、当社グループのEmendo社は、独自のゲノム編集技術の開発を進めており、ゲノム編集の分野でも難易度の高い技術を開発しております。

さらに当社は国内外の企業と積極的に提携し、有望な医薬品の実用化に向けて共同開発を進めております。

以下に、当社グループの開発品並びに当社提携先の開発状況についてご説明いたします。

当社の開発プロジェクト

■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	市販後 調査	承認審査	本承認
							第I相	第II相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベペ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	完了	完了	完了	完了	完了	承認済	実施中	審査中	

■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 (ベペ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	完了	完了	完了	後期 実施中	目標症例数投与 経過観察	完了	
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	完了	完了	審査中	
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	完了	完了	申請 準備中	
NF-κBデコイオリゴDNA	日本	—	注射剤	腰痛症	完了	完了	完了	準備中	国内での臨床試験準備中		
DNAワクチン	豪州	—	注射剤	高血圧	完了	完了	完了	完了	完了		
DNAワクチン	米国	—	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	実施中	実施中	実施中	実施中	実施中		
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune (共同開発先)	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群	完了	完了	完了	前期 実施中	完了		
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger(導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL)*	完了	完了	完了	導入品	オーファン・ ドラッグに指定	審査中	

※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」：プロジェイド・ラミノパチー

■HGF遺伝子治療用製品(一般名：ベペルミノゲンペルプラスミド)(自社品)

国内における慢性動脈閉塞症を対象疾患としたHGF遺伝子治療用製品の開発については、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品「コラテジェン®」として、慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善を効能効果として条件及び期限付き承認を取得し、2019年9月10日より発売を開始いたしました。2021年末に製造販売後承認条件評価のための目標症例数である本品投与120例、比較対照80例の患者登録が完了し、2023年5月31日に条件解除に向けた製造販売承認の申請を厚生労働省に提出いたしました。

米国における開発につきましては、2022年末までに下肢潰瘍を有する閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第II相臨床試験の当初目標症例60例の投与を完了し、さらに、脱落例をふまえ、2023年第1四半期に数例の登録追加を完了しております。2023年度においては、投与後の経過観察を実施いたします。

その他、イスラエルでは、2022年に当社の提携先企業Kamada社が、イスラエル保健省に製造販売承認を申請し、現在審査が行われています。また、トルコでは、当社提携先企業Er-Kim社の申請に向けた準備が、トルコ政府の財政面の問題等から停滞しております。

当社は、コラテジェンの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田辺三菱製薬と締結しております。

■NF-κBデコイオリゴDNA(自社品)

核酸医薬NF-κBデコイオリゴDNAについては、米国において椎間板性腰痛症を対象とした後期第I相臨床試験を実施し、投与後の観察期間6ヶ月間に続き、12ヶ月間を経た結果でも、患者の忍容性は高い上、重篤な有害事象も認められず、安全性を確認できました。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、有効性も確認できました。

現在、日本国内における第II相臨床試験の準備を進めており、臨床試験のプロトコールについても当局の確認を完了しております。なお、当該試験に関して塩野義製薬株式会社と契約を締結し、費用の一部を負担いただくと

もに、試験結果に基づき第Ⅲ相臨床試験の実施について協議する予定です。

■高血圧治療用DNAワクチン（自社品）

高血圧治療用DNAワクチンについては、オーストラリアでの第Ⅰ相/前期第Ⅱ相臨床試験は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ました。今後の開発につきましては、新型コロナウイルスのDNAワクチンとは異なるプラスミドDNAの発現に関する改善策などの検討を進めてまいります。

■新型コロナウイルス感染症DNAワクチン（自社品）

2020年から2022年まで実施した研究開発の知見を活かし、プラスミドの発現効率や導入効率の向上等、プラットフォームの見直しを行い、並行して、将来発生する可能性のある新たな変異株を視野に入れた改良型DNAワクチン並びにワクチンの経鼻投与製剤の研究を米国スタンフォード大学と共同で実施しております。これまでの研究において薬剤のデリバリーシステムに関する研究に進捗が見られております。

■Tie2受容体アゴニスト（共同開発品）

Tie2受容体アゴニストは、カナダのバイオ医薬品企業であるVasomune社と共同開発契約を締結し、急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象に2020年12月より米国において第Ⅰ相臨床試験を実施し、安全性と忍容性を確認いたしました。当初新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象としていましたが、その後、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換えりが急速に進んだことに伴い、第Ⅱ相臨床試験の対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に広げるべく米国FDAに申請し、承認を受けることができました。2023年度は、前期第Ⅱ相臨床試験の目標症例数の登録を目指し、南米での臨床試験の準備も進めてまいります。

■Zokinvy（一般名：ロナファルニブ）（導入品）

当社は、2022年5月に米国の医薬品企業であるEiger BioPharmaceuticals Inc. 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・ラミノパチーを適応症とする治療薬であるZokinvyについて、日本における独占販売契約を締結いたしました。2023年3月に希少疾病治療薬（オーファン・ドラッグ）の指定を受け、2023年5月12日に厚生労働省に製造販売承認申請を提出いたしました。

Emendo社の開発プロジェクト

■Emendo社の開発

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	▶			
		家族性高コレステロール血症・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

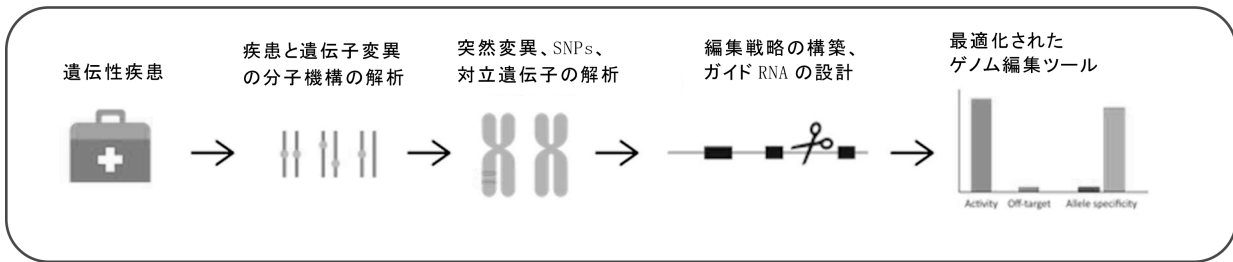
当社は、究極の遺伝子治療法ともいわれるゲノム編集技術を用いた遺伝子疾患治療に挑むため、2020年12月にゲノム編集における先進技術及びそれを活用した開発パイプラインを持つEmendo社を子会社化しました。Emendo社では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼ<sup>(※1)</sup>を探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、ゲノム編集でしばしば問題視される「オフターゲット効果」<sup>(※2)</sup>を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNI ヌクレアーゼ）を数多く作出し、特許を出願しております。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<sup>(※3)</sup>では、対立遺伝子<sup>(※4)</sup>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立遺伝子のうち、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。

Emendo社では、ELANE関連重症先天性好中球減少症を対象とするゲノム編集治療について、2023年度中に米国での臨床試験開始に向け、FDAと協議を継続しています。

このほか、家族性高コレステロール血症（FH）を対象とするゲノム編集治療についても臨床試験に向けた研究開発を継続しております。



- ※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。
- ※4 ヒトの細胞には父親から受継いだ染色体と母親から受継いだ染色体がペアとなって存在しています。それぞれの染色体には基本的に同じ遺伝子が載っており、片方の染色体に載っている遺伝子から見て、もう片方の染色体の同じ場所に載っている遺伝子を対立遺伝子と言います。

## 検査受託サービス及び提携先における開発状況

### ■希少遺伝性疾患検査を主目的としたACRLの検査受託

ACRLでは現在、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）が展開する拡大新生児スクリーニングである「オプションスクリーニング」を受託しております。これに加え、希少遺伝性疾患の確定のための遺伝学的検査の技術対応を完了し、2023年冬には受託を開始する予定で準備を進めています。さらに、治療効果をモニタリングするバイオマーカーの検査については、実施体制の構築を進めており、希少遺伝性疾患のスクリーニングから診断、治療に至るまでの包括的な検査体制の提供を目指してまいります。

### ■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I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

2023年12月期の通期業績予想につきましては、最近の業績動向を踏まえて、2023年2月10日に公表しました業績予想数値から変更しております。詳細につきましては、2023年8月9日公表の「2023年12月期通期業績予想の修正に関するお知らせ」をご参照ください。



## 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 (2022年12月31日)	当第2四半期連結会計期間 (2023年6月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	11,035,102	7,766,581
売掛金	9,887	23,147
製品	3,453	105,682
原材料及び貯蔵品	1,004,996	1,439,792
前渡金	303,436	286,626
前払費用	91,734	74,882
未収消費税等	392,081	97,954
その他	55,766	50,114
流動資産合計	12,896,458	9,844,782
固定資産		
有形固定資産		
建物	209,531	218,250
減価償却累計額	△128,082	△131,605
建物(純額)	81,448	86,644
工具、器具及び備品	71,195	110,258
減価償却累計額	△59,941	△68,833
工具、器具及び備品(純額)	11,253	41,424
使用権資産	1,318,216	1,419,909
有形固定資産合計	1,410,919	1,547,979
無形固定資産		
のれん	23,254,472	23,820,172
無形固定資産合計	23,254,472	23,820,172
投資その他の資産		
投資有価証券	921,573	1,221,475
敷金及び保証金	97,969	98,378
繰延税金資産	158,067	167,919
その他	81,252	90,049
投資その他の資産合計	1,258,862	1,577,823
固定資産合計	25,924,253	26,945,974
資産合計	38,820,711	36,790,757

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当第2四半期連結会計期間 (2023年6月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
買掛金	553,252	481,565
未払金	590,301	555,314
未払費用	90,094	125,626
未払法人税等	148,339	95,644
前受金	5,764,004	6,401,554
預り金	16,865	13,908
リース債務	160,743	137,631
流動負債合計	7,323,600	7,811,244
固定負債		
繰延税金負債	12,416	19,585
資産除去債務	64,317	64,374
リース債務	994,969	1,008,212
固定負債合計	1,071,704	1,092,171
負債合計	8,395,304	8,903,416
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	35,146,368	34,559,954
資本剰余金	17,467,693	2,929,786
利益剰余金	△27,150,247	△15,778,037
自己株式	△31	△31
株主資本合計	25,463,783	21,711,672
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	19,396	36,876
為替換算調整勘定	4,841,242	6,018,646
その他の包括利益累計額合計	4,860,639	6,055,522
新株予約権	100,984	120,146
純資産合計	30,425,406	27,887,341
負債純資産合計	38,820,711	36,790,757

## (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2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自2022年1月1日 至2022年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自2023年1月1日 至2023年6月30日)
<b>事業収益</b>		
製品売上高	3,854	11,575
手数料収入	28,032	39,650
事業収益合計	31,886	51,226
<b>事業費用</b>		
売上原価	36,733	58,333
研究開発費	6,617,164	3,164,114
販売費及び一般管理費	2,502,524	2,780,025
事業費用合計	9,156,423	6,002,473
営業損失(△)	△9,124,536	△5,951,247
<b>営業外収益</b>		
受取利息	1,226	7,674
為替差益	1,489,712	1,089,771
補助金収入	202,737	74,256
受取手数料	5,112	4,175
投資事業組合運用益	-	6,511
雑収入	6,170	0
営業外収益合計	1,704,958	1,182,390
<b>営業外費用</b>		
支払利息	0	-
株式交付費	44	7,770
投資事業組合運用損	673	-
営業外費用合計	718	7,770
経常損失(△)	△7,420,296	△4,776,627
<b>特別損失</b>		
投資有価証券評価損	-	1,117
特別損失合計	-	1,117
税金等調整前四半期純損失(△)	△7,420,296	△4,777,745
法人税、住民税及び事業税	9,805	54,211
法人税等調整額	△4,255	△1,922
法人税等合計	5,550	52,289
四半期純損失(△)	△7,425,846	△4,830,034
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)	△7,425,846	△4,830,034

四半期連結包括利益計算書  
第2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年6月30日)
四半期純損失(△)	△7,425,846	△4,830,034
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	△11,974	17,479
為替換算調整勘定	3,316,360	1,177,403
その他の包括利益合計	3,304,386	1,194,883
四半期包括利益	△4,121,460	△3,635,151
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△4,121,460	△3,635,151
非支配株主に係る四半期包括利益	-	-

## (3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自2022年1月1日 至2022年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自2023年1月1日 至2023年6月30日)
<b>営業活動によるキャッシュ・フロー</b>		
税金等調整前四半期純損失	△7,420,296	△4,777,745
減価償却費	9,760	12,239
のれん償却額	1,348,807	1,478,485
受取利息	△1,226	△7,674
支払利息	0	-
為替差損益(△は益)	△1,562,625	△1,046,977
投資事業組合運用損益(△は益)	673	△6,511
投資有価証券評価損益(△は益)	-	1,117
株式交付費	-	7,770
株式報酬費用	-	33,373
売上債権の増減額(△は増加)	2,757	△13,260
棚卸資産の増減額(△は増加)	△444,382	△537,025
仕入債務の増減額(△は減少)	781,386	△93,680
前渡金の増減額(△は増加)	1,179,592	32,210
未収消費税等の増減額(△は増加)	198,536	294,139
未払金の増減額(△は減少)	△241,338	△72,830
未払費用の増減額(△は減少)	8,294	26,751
前受金の増減額(△は減少)	644,251	637,550
その他の流動資産の増減額(△は増加)	77,548	23,492
その他の固定資産の増減額(△は増加)	△395	△1,548
その他の流動負債の増減額(△は減少)	△33,062	△87,417
その他の固定負債の増減額(△は減少)	△4,213	△54,420
小計	△5,455,931	△4,151,961
利息の受取額	1,226	7,674
利息の支払額	△0	-
法人税等の支払額	△29,281	△54,115
営業活動によるキャッシュ・フロー	△5,483,987	△4,198,402
<b>投資活動によるキャッシュ・フロー</b>		
有形固定資産の取得による支出	△10,108	△47,189
投資有価証券の取得による支出	-	△275,679
投資事業組合からの分配による収入	-	8,339
敷金及び保証金の差入による支出	△4,331	-
敷金及び保証金の回収による収入	1,000	122
投資活動によるキャッシュ・フロー	△13,440	△314,407
<b>財務活動によるキャッシュ・フロー</b>		
新株予約権の行使による株式の発行による収入	-	1,060,894
ストックオプションの行使による収入	1	-
新株予約権の買入消却による支出	-	△5,159
財務活動によるキャッシュ・フロー	1	1,055,735
現金及び現金同等物に係る換算差額	805,572	185,703
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△4,691,854	△3,271,370
現金及び現金同等物の期首残高	17,835,704	10,969,684
現金及び現金同等物の四半期末残高	13,143,849	7,698,313

## (4) 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)

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、継続的に営業損失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事象又は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

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが当社グループの重要な課題と認識しております。

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。製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月31日に条件解除に向け、厚生労働省に製造販売承認の申請を行いました。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、2023年第1四半期連結累計期間において脱落例対応も完了し、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第Ⅰ相臨床試験を完了し、現在日本国内における第Ⅱ相臨床試験の準備を進めております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症(COVID-19)による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進み、対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸切迫症候群(ARDS)に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

## ② 開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高いため、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しております。

現在の当社グループのパイプラインは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社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おります。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、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けFDAと協議を開始し、2023年度中の米国での臨床試験開始に向けた準備を進めております。同社はゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。

2020年3月より開発を進めていた新型コロナウイルス感染症の武漢型予防DNAワクチンの開発は中止に至りましたが、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に関する共同研究をスタンフォード大学と開始し、早期に臨床開発に移行し開発パイプライン拡大に繋がられるように取り組んでまいります。

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。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本での独占販売契約を締結し、2023年5月12日、厚生労働省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として米国及び欧州で承認を受け、販売されております。

今後も、ライセンス導入や共同開発、創業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。

また、衛生検査所であるACRLの「希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査」は首都圏を対象として受託をしておりますが、今後は各自治体や民間の検査センター等との連携により追加スクリーニング検査の受託拡大活動を進めてまいります。さらに、これまでのスクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の確定検査や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実

施できる体制の構築を進めることで、事業基盤の拡大を目指してまいります。

#### 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、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・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、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを基本方針としております。

コラテジェンに関しましては、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、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理されました。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

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）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権（第三者割当て）発行の決議を行いました。今後も、研究開発活動推進及び企業活動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。

しかしながら、現時点において、第43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、継続企業的前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業的前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

当社は、2023年1月1日から2023年6月30日までの間に、Cantor Fitzgerald & Co. から新株予約権の権利行使による払込みを受け、資本金及び資本剰余金がそれぞれ538,962千円増加しております。また、会社法第447条第1項及び会社法第448条第1項の規定に基づき、資本金を1,125,375千円、資本準備金を15,076,868千円減少し、その他資本剰余金へ振り替えております。この結果、当第2四半期連結累計期間において資本金が586,413千円、資本準備金が14,537,906千円減少し、当第2四半期連結会計期間末において資本金が34,559,954千円、資本剰余金が2,929,786千円となっております。

(単位：千円)

	株主資本				
	資本金	資本剰余金	利益剰余金	自己株式	株主資本合計
2023年1月1日残高	35,146,368	17,467,693	△27,150,247	△31	25,463,783
四半期連結累計期間中の変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)	538,962	538,962			1,077,924
減資	△1,125,375	1,125,375			—
欠損填補		△16,202,244	16,202,244		—
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)			△4,830,034		△4,830,034
四半期連結累計期間中の変動額合計	△586,413	△14,537,906	11,372,210	—	△3,752,110
2023年6月30日残高	34,559,954	2,929,786	△15,778,037	△31	21,711,672

(会計方針の変更)

「時価の算定に関する会計基準の適用指針」(企業会計基準適用指針第31号 2021年6月17日。以下「時価算定会計基準適用指針」という。)を第1四半期連結会計期間の期首から適用し、時価算定会計基準適用指針第27-2項に定める経過的な取扱いに従って、時価算定会計基準適用指針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しております。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43回新株予約権の発行決議と発行について

当社は、2023年6月26日開催の取締役会において、行使価額修正条項付き第43回新株予約権（以下「本新株予約権」といいます。）を第三者割当ての方法により発行すること、及び本新株予約権に係るコミットメント条項付き第三者割当て契約（以下「本第三者割当て契約」といいます。）を締結することを決議し、同年7月12日に本新株予約権の発行価額の全額の払込みが完了しています。

なお、第43回新株予約権の概要は以下のとおりです。

(1)	割当日	2023年7月12日	
(2)	本新株予約権の総数	446,393個	
(3)	発行価額	本新株予約権1個につき19円（総額8,481千円）	
(4)	当該発行による潜在株式数	潜在株式数：44,639,300株（本新株予約権1個につき100株） 上限行使価額はありません。 下限行使価額は74円ですが、下限行使価額においても、潜在株式数は44,639,300株です。	
(5)	資金調達額 (差引手取概算額)	5,418,476千円（注）	
(6)	行使価額及び行使価額の修正条件	当初行使価額：122円 行使価額は、本新株予約権の各行使請求の効力発生日の直前取引日の東京証券取引所における当社普通株式の終値の94%に相当する金額に修正されますが、その価額が下限行使価額を下回る場合には、下限行使価額が修正後の行使価額となります。	
(7)	募集又は割当方法	第三者割当ての方法	
(8)	割当先	BofA証券株式会社	
(9)	行使期間	2023年7月13日から2025年7月14日まで	
(10)	資金の用途	①慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬の正式承認に向けた製造販売費用及びグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	3,218百万円
		②早老症治療剤「ゾキンヴィ」の正式承認に向けた製造販売費用	1,500百万円
		③慢性椎間板性腰痛症治療用NF-κBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用	700百万円
(11)	その他	<p>当社は、割当先であるBofA証券株式会社との間で、本第三者割当て契約を締結しています。本第三者割当て契約において、以下の内容が定められています。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・当社による本新株予約権の行使の指定</li> <li>・当社による本新株予約権の行使の停止</li> <li>・割当先による本新株予約権の取得に係る請求</li> <li>・当社が、株式会社東京証券取引所の定める有価証券上場規程第434条第1項及び同施行規則第436条第1項から第5項までの定め並びに日本証券業協会の定める「第三者割当増資等の取扱いに関する規則」に従い、本新株予約権の行使制限措置を講じること</li> </ul> <p>なお、本第三者割当て契約において、本新株予約権の譲渡の際に当社取締役会の承認が必要である旨が定められ、また、譲渡された場合でも、上記の割当先の権利義務は、譲受人に引き継がれる旨が規定されています。</p>	

(注) 資金調達額は、本新株予約権の払込金額の総額に本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額を合算した金額から発行諸費用の概算額を差し引いた金額です。なお、本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額は、当初行使価額で全ての本新株予約権が行使されたと仮定した

場合の金額であります。行使価額が修正又は調整された場合には、資金調達額は増加又は減少します。また、本新株予約権の行使期間内に行使が行われない場合及び当社が取得した本新株予約権を消却した場合には、資金調達額は減少します。

## 2. 新株予約権の行使

当社が発行いたしました第43回新株予約権につき、2023年7月13日から2023年8月8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	23,295個（発行総数の5.22%）
交付株式数	2,329,500株
行使価額総額	223,536千円
未行使新株予約権個数	423,098個
増加する発行済株式数	2,329,500株
資本金増加額 ※1、2	111,989千円
資本剰余金増加額 ※1、2	111,989千円

※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221千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権行使による新株発行の結果、2023年8月8日現在の発行済株式総数は189,553,400株、資本金は34,671,944千円、資本剰余金は3,041,775千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、継続的に営業損失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事象又は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

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが当社グループの重要な課題と認識しております。

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。製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月31日に条件解除に向け、厚生労働省に製造販売承認の申請を行いました。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、2023年第1四半期連結累計期間において脱落例対応も完了し、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第Ⅰ相臨床試験を完了し、現在日本国内における第Ⅱ相臨床試験の準備を進めております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症（COVID-19）による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進み、対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸切迫症候群（ARDS）に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

#### ②開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高いため、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しております。

現在の当社グループのパイプラインは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社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おります。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、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けFDAと協議を開始し、2023年度中の米国での臨床試験開始に向けた準備を進めております。同社はゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。

2020年3月より開発を進めていた新型コロナウイルス感染症の武漢型予防DNAワクチンの開発は中止に至りましたが、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に関する共同研究をスタンフォード大学と開始し、早期に臨床開発に移行し開発パイプライン拡大に繋がられるように取り組んでまいります。

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。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本での独占販売契約を締結し、2023年5月12日、厚生労働省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として米国及び欧州で承認を受け、販売されております。

今後も、ライセンス導入や共同開発、創業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。

また、衛生検査所であるACRLの「希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査」は首都圏を対象として受託をしておりますが、今後は各自治体や民間の検査センター等との連携により追加スクリーニング検査の受託拡大活動を進めてまいります。さらに、これまでのスクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の確定検査や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実

施できる体制の構築を進めることで、事業基盤の拡大を目指してまいります。

#### 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、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・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、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを基本方針としております。

コラテジェンに関しましては、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、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理されました。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

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）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権（第三者割当て）発行の決議を行いました。今後も、研究開発活動推進及び企業活動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。

しかしながら、現時点において、第43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、継続企業の前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業の前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。