

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

アンジェス MG

4563 東証マザーズ

[企業情報はこちら >>>](#)

2017年3月9日(木)

執筆：客員アナリスト

佐藤譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<http://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. 2016年12月期は研究開発費負担増で損失が拡大	01
2. 2017年12月期は2つの臨床試験を海外でスタート	01
3. 開発プロジェクトの選択と早期段階ライセンスアウト	01
■ 会社概要	02
1. 会社沿革	02
2. 事業の特徴とビジネスモデル	04
■ 主要パイプラインの開発状況	05
1. HGF 遺伝子治療薬	05
2. NF- κ B デコイオリゴ (核酸医療)	07
3. 高血圧 DNA ワクチン (注射投与)	08
4. その他パイプライン	09
■ 業績動向	10
1. 2016年12月期の業績概要	10
2. 2017年12月期の業績見通し	11
3. 財務状況	11
■ 長期ビジョン	13

■ 要約

2017年半ばに国内で重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の承認申請を目指す

アンジェス MG<4563> は、1999年に設立された大阪大学発の創薬ベンチャー。遺伝子医薬に特化した開発を進めている。新薬候補品を開発し、販売パートナーとの販売権許諾契約によって得られる契約一時金や、開発の進捗状況等によって得られるマイルストーン収益、上市後の製品売上高にかかるロイヤリティ収入を獲得するビジネスモデルとなる。

1. 2016年12月期は研究開発費負担増で損失が拡大

2016年12月期の事業収益は前期比19.6%増の514百万円、営業損失は4,763百万円（前期は4,171百万円の損失）となった。2016年12月に、同社が保有する子宮頸部前がん治療ワクチン（以下、CIN治療ワクチン）の独占的開発・製造・販売権を、森下仁丹<4524>に再許諾する契約を締結し、契約一時金を計上したことが増収要因となった。一方で、国内外での臨床試験費用及び非臨床試験費用の増加に伴い、研究開発費が前期比655百万円増加したことが損失拡大要因となった。

2. 2017年12月期は2つの臨床試験を海外でスタート

2017年12月期の連結業績は、事業収益で360百万円、営業損失で3,400百万円を見込んでいる。事業収益については商品売上高のみを計画に織り込んでいる。一方、費用面では研究開発費が前期比で減少するため、損失額は縮小する見通しだ。重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬に関しては、国内で2017年半ばに「条件及び期限付承認制度」による承認申請を目指し、米国では新たな試験計画の策定を行っている。また、2017年半ばには椎間板性腰痛症治療薬として開発を進める NF- κ B（エヌ・エフ・カッパ・ビー）デコイオリゴの第1/2相臨床試験を米国で、高血圧 DNA ワクチンの第1相臨床試験をオーストラリアでそれぞれ開始する計画となっている。

3. 開発プロジェクトの選択と早期段階ライセンスアウト

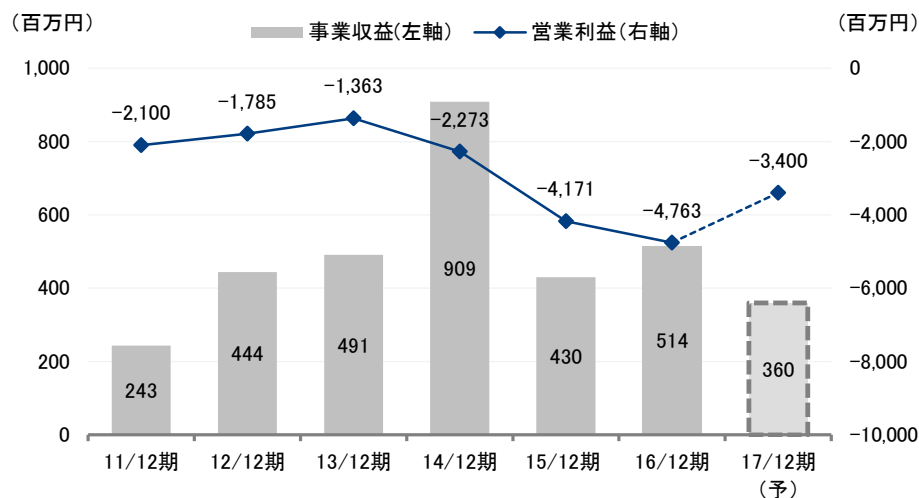
同社は開発最終段階にあるものを中心にプロジェクトの選択を行うとともに、開発早期段階のプロジェクトについては POC ※を取得できた段階でのライセンスアウトを行うことで研究開発費の削減や一時金等の収入を得ることを検討していく。今期は引き続き開発資金を株式市場から調達する可能性が高いが、上記施策が着実に実施されれば今後は徐々に財務状況の改善に向かうものと予想される。

※ POC (Proof of Concept) : 基礎的な研究で予想された薬の効果が、実際に動物またはヒトへの投与試験により証明されること。

Key Points

- ・大阪大学発のバイオベンチャーで、遺伝子医薬に特化した開発を進める
- ・2017年12月期は海外で3つのプロジェクトの臨床試験開始を予定
- ・開発プロジェクトの選択と早期段階ライセンスアウト

事業収益及び営業利益の推移



出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 会社概要

大阪大学発のバイオベンチャーで、 遺伝子医薬に特化した開発を進める

1. 会社沿革

同社は1999年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーである。創業者で、当時同大学医学部の助教授であった森下竜一（もりしたりゅういち）氏（現 大阪大学大学院 医学系研究科 臨床遺伝子治療学寄附講座 教授）らの研究チームが、1995年にHGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用を発見し、この研究成果を事業化することを目的に設立された。

HGF 遺伝子治療薬では2001年に第一製薬（株）（現 第一三共 <4568>）と独占的販売権許諾契約を結んだが、その後提携関係を解消しており、代わりに田辺三菱製薬 <4508> と2012年に米国市場、2015年に国内市場で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、上市に向けた開発を進めている。

会社概要

もう1つの主力開発品である核酸医薬品のNF- κ B デコイオリゴは、アトピー性皮膚炎（顔面で中等症以上の患者が対象）治療薬として開発を進め、2005年にアルフレッサファーマ（株）と共同開発契約を締結したが、開発方針の転換により2008年に共同開発契約を終了。2010年に塩野義製薬<4507>と独占販売権許諾契約を締結した。2016年7月に臨床試験の結果で主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的な有意差が得られなかったため、今後の開発方針を検討すべく、詳細なデータの検証を行っているところである。また、2012年よりメディキット<7749>とNF- κ B デコイオリゴを薬剤とした薬剤塗布型バルーンカテーテルの共同開発を進めてきたが、2016年12月に臨床試験の結果において、既存のバルーンカテーテル群との比較で統計的有意差が得られなかったため共同開発契約を終了している。

また、2016年には第3のパイプラインとして開発を進めるDNA ワクチン領域において、開発実績や製造ノウハウを持つ米国 Vical Incorporated.（以下、Vical）に追加出資（出資比率 2.4% → 18.6%）を行い、戦略的事業提携を締結した。

このほか、導入品として、希少疾病であるムコ多糖症 VI 型治療薬「ナグラザイム」の国内販売権を2006年に、米国バイオマリン ファーマシューティカル（以下、バイオマリン）から取得、2008年より販売を開始したほか、2013年に韓国（株）バイオリーダーズから導入したCIN 治療ワクチンに関して、2016年12月に森下仁丹に独占的開発・製造・販売権の再許諾を行う契約を締結した。

なお、連結子会社は2社あり、米国の子会社はHGF 遺伝子治療薬の開発拠点として、英国の子会社は欧州地域における情報収集やライセンス活動の拠点として事業を行っている。ただ、いずれも規模は小さく、連結業績に与える影響は軽微となっている。

会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療薬、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として設立
2001年10月	米国での臨床開発を目的として、アンジェス インク（連結子会社）を設立
2002年 6月	欧州での臨床開発を目的として、英国にアンジェス ユーロ リミテッド（連結子会社）を設立
2002年 9月	東京証券取引所マザーズ市場に上場
2006年12月	ムコ多糖症VI型治療薬（ナグラザイム）の国内での販売に関し、米国バイオマリン ファーマシューティカルと提携
2008年 4月	ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始
2010年12月	NF- κ B デコイオリゴのアトピー性皮膚炎分野において、塩野義製薬（株）と共同開発するライセンス契約を締結
2012年10月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療薬の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
2013年 4月	韓国バイオリーダーズと CIN 治療ワクチンの国内外における開発・製造・販売の独占的実施許諾契約を締結
2014年10月	HGF 遺伝子治療薬の国際共同第3 相臨床試験開始（2016年6月に中断、開発方針を変更）
2015年 6月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療薬の国内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
2015年10月	DS ファーマアニマルヘルス（株）と高血圧 DNA ワクチンの動物用医薬品に関する共同開発契約を締結
2016年 6月	CIN 治療ワクチンの開発・製造・販売権を森下仁丹に再許諾
2016年 7月	新たなドラッグデリバリーシステムについて大阪大学と共同研究契約を締結
2016年 8月	米国 Vical に追加出資（出資比率 2.4% → 18.6%）
2016年12月	DNA ワクチン分野で米国 Vical と戦略的事業提携契約を締結

出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

会社概要

2. 事業の特徴とビジネスモデル

同社の事業の特徴は、遺伝子の働きを活用した医薬品である遺伝子治療薬、核酸医薬、そして DNA ワクチンを遺伝子医薬として定義し、その研究開発に特化していることにある。開発の対象疾患は、社会的な使命であると同時に確実な需要が存在する「難治性疾患」や「有効な治療法がない疾患」としている。また、自社開発品以外にもこうした事業方針と合致する開発候補品を海外のベンチャーや大学等の研究機関から導入し、開発パイプラインの強化とリスク分散を行っている。

同社は研究開発に特化しており、原薬の製造は外部の専門機関に委託している。また、販売についても開発品や地域ごとに大手製薬メーカーと販売権許諾契約を締結し、上市後も自社販売は行わないことを基本戦略とする。このため連結従業員数は、2016年12月末時点で55名と小規模となっている。なお、現在販売している商品は、バイオマリンから導入しているナグラザイムのみで、自社開発品の上市実績はまだない。

同社のビジネスモデルは、遺伝子医薬の開発を行い、開発の過程で販売権許諾契約（または共同開発・販売権許諾契約）をパートナー企業と締結することで得られる契約一時金収入、開発の進捗に応じて得られるマイルストーン収入及び上市後の製品売上高に対して一定料率で発生するロイヤリティ収入で収益を獲得していくモデルとなる。臨床試験の規模や期間は対象疾患等によって異なってくるが、第1相から第3相試験までおよそ3～7年程度かかると言われている。臨床試験の結果が良ければ、規制当局に製造販売の承認申請を行い、おおむね1～2年の審査期間を経て問題がなければ承認、上市といった流れとなる。

同社は現在開発ステージのため、収益も損失が続いているが、開発品が上市されれば利益化も視野に入ってくる。特に主要開発パイプラインである HGF 遺伝子治療薬や NF- κ B デコイオリゴについては、自社主導の開発と先行投資を行っているため、ロイヤリティ料率も一般的な水準より高く設定されており、上市後の収益へのインパクトも大きくなることが予想される。

一般的な新薬開発のプロセスと期間

プロセス	期間	内容
基礎研究	2～3年	医薬品ターゲットの同定、候補物質の創製及び絞り込み
前臨床試験	3～5年	実験動物を用いた有効性及び安全性の確認試験
臨床試験	3～7年	第1相：少数の健康人を対象に、安全性及び薬物動態を確認する試験 第2相：少数の患者を対象に、有効性及び安全性を確認する試験 第3相：多数の患者を対象に、有効性及び安全性を最終的に確認する試験
申請・承認	1～2年	国（厚生労働省）による審査

出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

■ 主要パイプラインの開発状況

海外で2つのプロジェクトの臨床試験開始を予定

同社の主要開発パイプラインは、HGF 遺伝子治療薬、NF- κ B デコイオリゴ、DNA 治療ワクチンなどがある。各パイプラインの概要と今後の開発方針は以下のとおり。

開発スケジュール

プロジェクト	適応症	地域	2015年	2016年	2017年	2018年	2019年	提携先	市場規模
HGF遺伝子治療薬	重症虚血肢	日本	医師主導臨床研究実施中		条件及び期間付承認申請	条件及び期限付承認、上市、本承認へ		田辺三菱製薬 (日本、米国)	中～大
		米国	グローバル第3相試験中断		新たな第3相試験の計画、予定中				大
	リンパ浮腫	日本	第1/2相試験(原発性)		次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等			-	中
NF- κ B デコイオリゴ	椎間板性腰痛症	米国			2017年内に第1/2相試験を実施予定	次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等		-	大
NF- κ B デコイオリゴ(軟膏剤)	アトピー性皮膚炎	日本		治験で統計的有意差得られず今後の開発方針を検討				塩野義製薬(全世界)	小～中
DNA治療ワクチン	高血圧症	世界			2017年内に第1相試験をオーストラリアで実施予定			-	大

出所：ヒアリング及び決算説明資料よりフィスコ作成

1. HGF 遺伝子治療薬

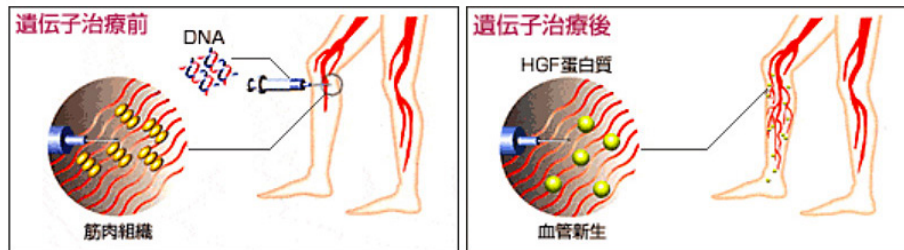
(1) 重症虚血肢

HGF 遺伝子治療薬では血管新生作用の効果を活用して、重症虚血肢とリンパ浮腫を対象とした開発を進めている。なかでも注目されているのが、重症虚血肢向けのプロジェクトとなる。重症虚血肢の患者数は米国だけで推定 50 万人とみられ、このうち現在の治療法（血管内治療や外科的バイパス手術）の適応とならない患者、あるいはこれら治療法を行うリスクが高いと判断される患者数は 10～20 万人（国内では 1～2 万人）と推定されており、こうした患者を対象とした場合の市場規模は約 50 億ドルと推計されているためだ。

重症虚血肢とは、安静時でも疼痛を感じる重度の末梢性血管疾患を指す。血管が閉塞することによって血流が止まり、下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患である。HGF 遺伝子治療薬を血管が詰まっている部位周辺に注射投与することによって新たな血管を作り出し、血管新生による血流回復によって症状の改善を図る効果が期待されている。

主要パイプラインの開発状況

注射による HGF 遺伝子治療 (末梢性血管疾患)



出所：会社資料より掲載

国内では大阪大学医学部附属病院が主導となり、先進医療 B 制度を活用した医師主導型臨床研究が実施されており（2014年10月に1例目を開始し、2016年9月に4例目の投与が開始されている）、6例のデータを持って条件及び期限付承認制度を活用した承認申請を行う予定となっている。治験デザインとしては1ヶ月ごとに2回投与し、2ヶ月の観察期間を設けている。主要評価項目としては、「痛み、潰瘍の改善」を挙げている。現在、残り2症例の実施に向けて6ヶ所の医療施設で被験者のスクリーニングを進めている段階であり、仮に3月中に残り2例の投与が開始されれば6月までに観察期間が終了し、データ収集及び分析を行い、結果が良好であれば年央に製造販売承認を申請し、2018年半ばには条件付承認が得られる見通しとなっている。ただ、6例目の投与開始時期が遅れば、そのあとのスケジュールもずれ込むほか、良い試験結果が得られなかった場合は申請を行わない可能性もある。とはいえ、既に4例の観察期間が無事終了していることから、承認申請を行う可能性は高いと弊社では見ている。

一方、海外では、2014年10月から実施してきた第3相のグローバル臨床試験を2016年6月に中止し、現在は米国市場での承認取得を目指すべく新たな試験計画を策定している段階にある。今後のスケジュールとしてはグローバル臨床試験で登録した約50症例のデータや過去データの解析を行い、準備が整い次第FDA（米国食品医薬品局）と第3相臨床試験のプロトコルに関して協議を開始する予定となっている。

グローバル臨床試験では症例数を約500例とし、主要評価項目は「下肢の切断・死亡に至るまでの期間」、観察期間を1年半と設定していた。今回はより小規模、短期間の試験を目指し、主要評価項目は国内と同様「痛み、潰瘍の改善」として、FDAと協議を進めていく方針となっている。このため、臨床試験費用も従来より少額での実施が可能となる。FDAとの協議次第だができるだけ早期に臨床試験開始許可（IND）の申請を行い、臨床試験を開始することを目指している。

治験施設は2016年12月にHGF遺伝子治療薬やDNAワクチン等の開発戦略及び臨床試験に関する新たな手法の開発についての協業を発表した米国スタンフォード大学医学部で行うことになるが、被験者確保のため予備で他の施設を候補に入れることも想定している。

なお欧州市場については、ある段階で、EMA（欧州医薬品庁）との協議を開始する見込みだ。

主要パイプラインの開発状況

(2) 原発性リンパ浮腫

原発性リンパ浮腫向けでは、HGF 遺伝子治療薬の投与により「リンパ管の新生」作用が動物実験において確認されており、2013年10月よりPOCの確認を目的に国内で第1/2相の臨床試験を開始、2016年4月に最後の症例登録が完了している。症例数は約20症例で、観察期間は投与開始から1年間となっている。浮腫の体積変化やQOL（生活の質）等を経時的に評価しており、2017年4月に臨床試験が終了する。同社では、データ解析を行ってPOCが確認されれば、次の開発ステージ（更なる臨床試験の実施やライセンス契約等）の方針を発表する予定にしている。なお、リンパ浮腫を対象疾患とした遺伝子治療薬の臨床試験は世界で初めてで、開発意義の高さから費用の一部についてNEDO（新エネルギー・産業技術総合開発機構）の補助金が充てられている。

リンパ浮腫とは、リンパ管の障害によりリンパ流が停滞することで手足等が高度に腫れる疾患のことで、日本における推定潜在患者数は原発性リンパ浮腫で約3,000人、二次性リンパ浮腫で10万人以上とみられる。二次性リンパ浮腫に関しては、子宮がんや乳がん術後の発生率が高く、最近では加齢によるリンパ浮腫も増加傾向にある。治療法は理学療法（弾性着衣、リンパマッサージ等）、薬物治療、手術などがあるが、根治療法はいまだなく、HGF 遺伝子治療薬がその候補として期待されている。

2. NF- κ B デコイオリゴ（核酸医薬）

NF- κ B デコイオリゴ核酸は、人工核酸により遺伝子の働きを制御する「核酸医薬」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を担う「転写因子NF- κ B」に対する特異的な阻害剤である。主にNF- κ 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、研究開発を進めている。

(1) 椎間板性腰痛症（注射投与）

椎間板性腰痛症を適応症とした治療薬であり、患部に注射投与することによって、慢性腰痛に対する鎮痛効果とともに、椎間板変性に対しても進行抑制や修復を促す効果が期待できる新タイプの腰痛治療薬として開発を進めている。

臨床試験は米国で進めていく方針となっている。米国では患者数が多いだけでなく、椎間板内注射による治療法が一般的となっており、手技に習熟している医師も多いためだ。FDAに臨床試験開始許可申請を申請後、2017年半ばに第1/2相臨床試験をカリフォルニア大学サンディエゴ校等において開始する予定となっている。症例数は20例程度となる見込みで、試験期間は1年程度で終了する見込み。臨床試験でPOCを取得できれば、ライセンスアウト交渉を進めていく方針である。

(2) アトピー性皮膚炎（軟膏剤）

アトピー性皮膚炎患者のうち、顔面に中等症以上の皮疹を有する患者を対象に第3相臨床試験を国内で実施してきたが、2016年7月に試験結果が判明し主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的有意差が得られなかったため承認申請を断念し、現在は臨床試験のデータを検証し、今後の開発方針を検討している段階にある。

主要パイプラインの開発状況

現状では、アトピー性皮膚炎患者の中でも糜爛（びらん）症状の患者に対しては薬効が認められるデータ結果が得られており、同症状に絞って開発を継続していく可能性もある。ただ、対象患者数は当初想定の5分の1程度に減少するため、仮に上市まで進んだとしても収益性の面では厳しくなる。一方、ステロイドよりも副作用が少ないといった長所を生かして、現在は開発の対象外としている小児領域のアトピー性皮膚炎患者を対象に開発を進めていくことで、市場規模を拡大できる可能性もある。同社ではこれらの点を踏まえ、販売提携先である塩野義製薬の意向も確認しながら今後の開発方針を決定するとしている。

(3) 改良型デコイ「キメラデコイ」の製品開発を開始

同社は2016年7月に、改良型デコイ「キメラデコイ」の基盤技術開発を完了し、製品開発を開始したと発表した。従来のNF- κ Bデコイオリゴと比較して、格段に高い炎症抑制効果が動物実験で明らかとなっているほか、生体内での安定性に優れ、かつ生産コストも低くなるといった特徴を持つ。炎症抑制効果が高くなるのは、「キメラデコイ」がSTAT6とNF- κ Bという炎症に関わる2つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持つためだ。生産コストについては薬剤の分子量に依存するが、「キメラデコイ」はNF- κ Bデコイオリゴと比較して分子量が3～4割少ないため、生産コストも低くなるようだ。

同社では「キメラデコイ」に現在、大阪大学と共同で研究開発を進めている新規DDS※を組み合わせ、さらに薬効の高い治療薬の開発を進めていく方針となっており、2017年中に前臨床試験を開始したい考えだ。具体的な対象疾患としては、喘息、慢性関節リウマチ、変形性関節症、クローン病（炎症性腸疾患）などの治療薬の開発を目指していく考えだ。なお、既に開発が進行中の椎間板性腰痛症については既存のNF- κ Bデコイオリゴで開発を継続するが、今後新たに開発するものに関しては基本的に「キメラデコイ」で進めていくことになる。

※ DDS (Drug Delivery System) : 目標とする患部に薬物を効果的かつ集中的に送り込む技術。薬剤を膜などで包むことにより、途中で吸収・分解されることなく患部に到達させ、患部で薬剤を放出して治療効果を高める手法。

3. 高血圧 DNA ワクチン（注射投与）

DNA 治療ワクチンの1つとして、高血圧 DNA ワクチンの開発を進めている。大阪大学の森下教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、昇圧作用を有する生理活性物質アンジオテンシンIIに対する抗体の産生を誘導し、アンジオテンシンIIの作用を減弱させることで、長期間安定した降圧作用を発揮するワクチンとなる。

高血圧治療薬の市場規模は国内だけでも8,000億円以上、世界では数兆円規模となっており、この一部を代替することを目指している。現在主力の治療薬としてはARB（アンジオテンシンII受容体拮抗薬（経口薬））があるが、毎日服用する必要があるほか薬価も高いため、発展途上国では医療経済上の問題から使用が限定的となっている。一方、同社が開発するDNAワクチンは1回の治療で長期間の効果が期待され、開発に成功すれば発展途上国も含めて普及拡大が期待される。

主要パイプラインの開発状況

同社では第1相臨床試験を2017年半ばにオーストラリアで開始すべく、関係当局との協議を既に開始している。症例数は10～20例で、試験期間は1年程度（観察期間6ヶ月）で安全性や副作用等の確認を行う。前臨床試験においては、特に問題は見られなかった。今回の第1相試験を含めPOC取得後に製薬企業にライセンスアウトする方針である。同プロジェクトに関しては、海外のグローバル製薬企業の関心も高く、POCを取得した段階でライセンス販売契約が決まる可能性もあるだけに、今後の開発動向が注目される。

なお、DNAワクチンに関しては出資先である米国Vicalと2016年12月に戦略的事業提携契約を締結している。同社はDNAワクチン分野を、遺伝子治療薬及び核酸医薬に次ぐ第3の柱として育成していく考えで、そのためにDNAワクチンに関して長年の経験と広範な知識・開発ノウハウを持ち、製造設備も保有するVicalは最良のパートナーと判断したためだ。同社は今後、VicalとDNAワクチン分野での研究開発、製造、薬事などを対象に幅広く事業協力を進めていく予定で、共同研究開発等も視野に入れている。

なお、高血圧DNAワクチンについては、犬慢性心不全を対象とした動物用医薬品としての開発を行っているほか（大日本住友製薬<4506>の子会社、DSファーマアニマルヘルスと2015年10月に共同開発契約締結を発表）、東京大学医学部附属病院の寄附講座において、脳梗塞や心筋梗塞の発症率を低下させる効果があることなども研究成果として挙げている。

4. その他パイプライン

(1) エボラ出血熱抗血清製剤

エボラ出血熱に対する抗血清製剤の開発を2015年より進めている。エボラ出血熱ウイルスのタンパク質をコードとするDNAワクチンをウマに接種し、その血清に含まれる抗体を精製して抗血清製剤を製造する。DNAワクチン技術を保有するVicalより国内の独占の開発販売権を取得し、現在は、ワクチンと感染症の研究開発で世界有数の施設を持つカナダのサスカチュワン大学と共同で、本製剤の効果の検証を進めている段階にある。今後動物試験での検証を進めていく計画となっている。主に罹患者の治療用や感染リスクの高い医療従事者等の携帯用・備蓄用等の、緊急対策用の需要を想定している。

(2) CIN治療ワクチン（子宮頸部前がん病変治療ワクチン）

韓国のパイオリダースから導入したCIN治療ワクチンは、子宮頸がん前がん状態の組織を退縮させ、子宮頸がんへの移行、円錐切除手術を回避する効果が期待される乳酸菌L.caseiをベースとした経口剤となる。子宮頸がん前がん病変であるCIN2/3ステージ（中程度～高程度異形成、上皮内がん）の患者を投与対象とした治療薬で、全世界の推定年間罹患者数は約1,000万人とも言われており、潜在市場規模は大きい。

同ワクチンに関しては、2016年12月に森下仁丹に独占の開発・製造・販売権を再許諾する契約を締結しており、今後は森下仁丹が開発を進めていくことになる。現在は、東京大学医学部附属病院にて医師主導型の探索的臨床研究が実施されている。同社への今後の収益への影響については、上市された場合に、販売額に応じたロイヤリティ収入を同社が森下仁丹から受け取るようになる。

業績動向

研究開発費の増加により損失額拡大も、計画比では縮小

1. 2016年12月期の業績概要

2016年12月期の連結業績は、事業収益で前期比19.6%増の514百万円、営業損失で4,763百万円(前期は4,171百万円の損失)、経常損失で4,847百万円(同4,089百万円の損失)、親会社株主に帰属する当期純損失で4,776百万円(同4,143百万円の損失)となった。

事業収益は、「ナグラザイム」の売上高が前期比0.9%減の346百万円にとどまったものの、森下仁丹からの契約一時金の計上により、研究開発事業収益が同109.2%増の167百万円となったことが増収要因となった。営業損失の拡大については、研究開発費が前期比で655百万円増加したことが要因となっている。主にNF-κBデコイオリゴ(アトピー性皮膚炎治療薬の第3相臨床試験、椎間板性腰痛症の非臨床試験)にかかる研究開発費の増加によるものとなっている。なお、会社計画に対して損失額が縮小しているが、これは当初計画に織り込んでいたNF-κBデコイオリゴ(アトピー性皮膚炎治療薬、薬剤塗布型PTAバルーンカテーテル)やHGF遺伝子治療薬(国内重症虚血肢向け)に関する製造販売承認申請費用が、試験結果において統計的有意差が得られなかったこと、あるいは試験の進捗遅れによりそれぞれ必要なくなったことが主因となっている。

2016年12月期連結業績

(単位：百万円)

	15/12期		16/12期		
	実績	会社計画*	実績	前期比増減額	計画比増減額
事業収益	430	500	514	+84	+14
売上原価	179	-	174	-5	-
研究開発費	3,532	-	4,188	+655	-
販管費	889	-	914	+24	-
営業利益	-4,171	-5,200	-4,763	-591	+436
経常利益	-4,089	-5,200	-4,847	-757	+352
特別損益	-34	-	86	+121	-
当期純利益	-4,143	-5,200	-4,776	-633	+423

出所：決算短信よりフィスコ作成

* 会社計画は2016年12月発表値

研究開発費の減少により 2017年12月期の損失額は縮小に向かう

2. 2017年12月期の業績見通し

2017年12月期の業績は、事業収益で360百万円、営業損失、経常損失、親会社株主に帰属する当期純損失はいずれも3,400百万円となる見通し。事業収益については「ナグラザイム」の売上見込みだけを計画に入れており、契約一時金などは見込んでいない。一方、費用面ではNF-κBデコイオリゴ（アトピー性皮膚炎治療薬）の臨床試験関連費用がなくなることを主因に、研究開発費が前期の4,188百万円から2,700～2,800百万円まで減少する見込みとなっており、営業損失額もほぼ同額分が縮小する計画となっている。

2017年12月期連結業績見通し

(単位：百万円)

	16/12期 実績	17/12期	
		会社計画	前期比増減額
事業収益	514	360	-154
研究開発費*	4,188	2,750	-1,438
営業利益	-4,763	-3,400	+1,363
経常利益	-4,847	-3,400	+1,447
当期純利益	-4,776	-3,400	+1,376

出所：決算短信よりフィスコ作成

*2017年12月期の研究開発費は会社ヒアリングよりフィスコ推計

引き続き厳しい財務状況

3. 財務状況

2016年12月期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比212百万円減少の4,539百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では現預金が1,079百万円減少した。新株予約権の発行と行使によって4,872百万円を資金調達したものの、事業費用への充当や米国Vicalへ出資したことが減少要因となった。また、HGF 遺伝子治療薬やNF-κBデコイオリゴ、高血圧DNAワクチンの原薬製造に伴い原材料及び貯蔵品が445百万円増加した。固定資産では、Vicalへの追加出資を主因として410百万円増加した。

一方、負債合計は前期末比139百万円増加の669百万円となった。主にナグラザイムの仕入れに掛かる債務増加により、買掛金が142百万円増加した。また、純資産は前期末比351百万円減少の3,869百万円となった。新株予約権の行使に伴い資本金及び資本剰余金がそれぞれ2,436百万円増加したが、親会社株主に帰属する当期純損失4,776百万円の計上により利益剰余金が減少した。なお、累積の利益剰余金損失額は29,347百万円となっている。

業績動向

期末時点の現預金は995百万円となっており、今期の事業活動資金を賄うためには資金調達が必要となる。当面は2017年1月に発行した第三者割当による新株予約権（潜在株式数で800万株、希薄化率11.3%）の行使によって事業資金を調達していくことになる。1月に関しては200万株の行使により446百万円を調達しているが、現在の株価水準が今後も続くようであれば、100%行使されたとしても今期の事業活動資金が不足することになる。このため株式市場から再度、資金調達を行う可能性が高く、1株当たりの株主価値が希薄化するリスクがある点には留意しておく必要がある。

同社ではこうした財務状態を鑑みて、今後、最終段階にあるものを中心にプロジェクトの選択を行うとともに、開発早期段階でのライセンスアウトを行うことで開発コストの削減や資金の獲得を図っていくこととなる。

なお、同社は期間損失が続くなかで財務状況も厳しい状況にあることから、2016年12月期の決算短信において、継続企業の前提に関する注記を付している。

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	13/12期	14/12期	15/12期	16/12期	増減額
流動資産	3,304	7,593	4,242	3,619	-623
(現預金)	1,795	6,017	2,074	995	-1,079
固定資産	599	589	509	919	410
総資産	3,904	8,183	4,751	4,539	-212
負債合計	360	449	530	669	139
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	3,543	7,734	4,221	3,869	-351
経営指標					
自己資本比率	86.4%	93.2%	87.8%	85.0%	
有利子負債比率	-	-	-	-	

出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 長期ビジョン

遺伝子医薬のグローバルリーダーとなり、 売上高 500 億円以上を目指す

同社は長期ビジョンとして2025年ビジョンを策定している。主な目標として、遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、世界で認知される遺伝子治療・核酸医薬のスペシャリストとなること、治療法のない病気の新薬を実用化すること、売上高で500億円以上を達成することの3つを掲げている。黒字化の時期は現在の開発パイプラインの進捗状況次第となるが、特に、米国での重症虚血肢治療薬の開発に成功した場合には、数十億円規模のマイルストーン収益(既に受領した契約一時金含む)が得られる見通しとなっており、今後の開発動向が注目される。

重要事項（ディスクレーマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。“JASDAQ INDEX”の指数値及び商標は、株式会社東京証券取引所の知的財産であり一切の権利は同社に帰属します。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したものです。その内容及び情報の正確性、完全性、適時性や、本レポートに記載された企業の発行する有価証券の価値を保証または承認するものではありません。本レポートは目的のいかんを問わず、投資者の判断と責任において使用されるようお願い致します。本レポートを使用した結果について、フィスコはいかなる責任を負うものではありません。また、本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行動を勧誘するものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業との電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、資料作成時点におけるものであり、予告なく変更する場合があります。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、事前にフィスコへの書面による承諾を得ることなく本資料およびその複製物に修正・加工することは堅く禁じられています。また、本資料およびその複製物を送信、複製および配布・譲渡することは堅く禁じられています。

投資対象および銘柄の選択、売買価格などの投資にかかる最終決定は、お客様ご自身の判断でなさるようお願いいたします。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

株式会社フィスコ