

# COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

## アンジェス

4563 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2024年10月7日(月)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

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

## 目次

■ 要約	01
1. 「コラテジェン」の動向	01
2. ACRLの取り組み状況	02
3. 業績動向	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業の特徴とビジネスモデル	05
■ 主要開発パイプラインの動向	07
1. HGF 遺伝子治療用製品	07
2. ゾキンヴィ	11
3. NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA	11
4. 新型コロナウイルス感染症及び ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト)	13
■ EmendoBio の開発状況	14
1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴	14
2. 事業戦略	16
■ ACRL の取り組み状況	18
■ 業績動向	19
1. 2024年12月期第2四半期累計の業績概要	19
2. 2024年12月期の業績見通し	21
3. 財務状況について	22
■ 今後の成長戦略	24

## ■ 要約

### 「コラテジェン」の米国での治験結果は2024年秋に発表予定、 大手製薬企業とのライセンス交渉にも着手

アンジェス<4563>は、1999年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーで、長期ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目指している。2020年に先進ゲノム編集技術の開発を行う EmendoBio Inc. (以下、Emendo) を子会社化したほか、2021年には国内で希少遺伝性疾患の新生児向け オプショナルスクリーニング検査※を行う衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (以下、ACRL)」を開設し、検査受託サービスを開始した。

※ 公費負担ですべての新生児に実施しているマススクリーニング検査に含まれていない7疾患に対する有償検査サービスで、(一社)希少疾患の医療と研究を推進する会(以下、CReARID(クリアリッド))から受託して実施している。

#### 1. 「コラテジェン」の動向

HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン」は、国内で重度の閉塞性動脈硬化症を対象とした条件及び期限付き製造販売の承認申請を2024年6月に取り下げ、今後は米国での開発を優先する方針を明らかにした。米国で実施した下肢潰瘍を有する軽度から中等度の閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第2相臨床試験で、潰瘍の改善だけに留まらず治癒まで期待できることが明らかとなったためだ。詳細な内容については2024年秋にも発表される予定で、画期的治療薬として注目を浴びる可能性がある。また、治験担当医師より「米国で効率的に販売拡大するためには、強力な販売力を持つ米大手製薬企業とパートナーを組むことが最適」との助言があったことや国内の承認申請を取り下げたこともあり、2024年8月に田辺三菱製薬(株)との日米における独占的販売権許諾契約の解消を発表し、米国では新たなパートナーの探索に着手している。今後の開発方針もFDAと協議して決定する予定で、第3相臨床試験を行うか、早期承認制度を活用して販売承認申請を行うことが考えられる。9月18日付でFDAよりブレイクスルーセラピー(画期的新薬)※に指定されたことも発表しており、ポジティブに評価される。米国での対象患者数は数万人規模と見られ、上市できれば数百億円の売上ポテンシャルが期待できるほか、欧州への展開も進める予定だ。国内についても米国の開発動向を見てPMDAと協議しながら方針を決定する。

※ ブレイクスルーセラピー指定制度：重篤な疾患や生命を脅かす疾患に対する新規治療薬の開発と審査を迅速化することを目的にFDAが導入した制度で、臨床試験の結果などをもとに指定する。

要約

## 2. ACRL の取り組み状況

新生児を対象とした希少遺伝性疾患の検査事業は、前年比2倍強のペースで受託件数が拡大している。2024年8月には(公財)群馬県健康づくり財団と新たに契約し、群馬県における拡大新生児スクリーニング検査の受託も開始した。そのほかにも複数の自治体から引き合いがきており、年内にも契約が決まる見通しだ。2024年12月期は売上高で250百万円前後と前期比2倍以上に拡大し、損益面でも初めて黒字化が見込まれる。また、早老症治療剤「ゾキンヴィ」の発売(2024年5月)に合わせて、同疾患を対象とした遺伝学的検査(確定診断)※も開始した。今後は治療効果のモニタリングを行うためのバイオマーカー検査へと領域を拡大する予定で、希少遺伝性疾患検査に関するワンストップサービス体制を構築し、医療関係者や患者ニーズに応える方針だ。また、検査事業を推進するなかで、希少遺伝性疾患の新たな治療薬候補品の開発にもつなげていく。

※スクリーニング検査の結果で疾患の疑いがある場合、また、発症した症状から該当の疾患である可能性がある場合に、その病気の原因となる遺伝子変異の有無を確認することで該当の疾患かどうかを確定させる検査(確定検査)。

## 3. 業績動向

2024年12月期第2四半期累計の業績は、事業収益が347百万円(前年同期比296百万円増)、営業損失が5,107百万円(同843百万円減)となった。事業収益は、検査事業が伸びたこと加えて「ゾキンヴィ」の販売開始で151百万円、スウェーデンのAnocca AB(以下、Anocca)※からのライセンス契約一時金の受領により76百万円を計上したことが増加要因となった。営業損失の縮小は、Emendoの研究開発体制再編により研究開発費が同918百万円減少したことが主因だ。2024年12月期の事業収益は600百万円(前期比447百万円増)、営業損失は8,450百万円(同3,517百万円減)を見込む。検査事業の拡大や「ゾキンヴィ」の売上計上等が増収要因となる。また研究開発費の減少により営業損失は縮小する見込みだが、第2四半期まで為替が想定(142円/米ドル)より円安で推移し外貨建てコストが膨らんだこともあり、損失額は計画よりもやや膨らむ可能性がある。なお、2024年6月末の現金及び預金は1,820百万円と資金調達が必要な状況にある。このため、同社は2024年9月に第三者割当による社債(13億円)及び第45回新株予約権(下限行使価額35.5円、潜在株式数12,920万株)を発行し、今後の事業活動資金に充当する方針だ。

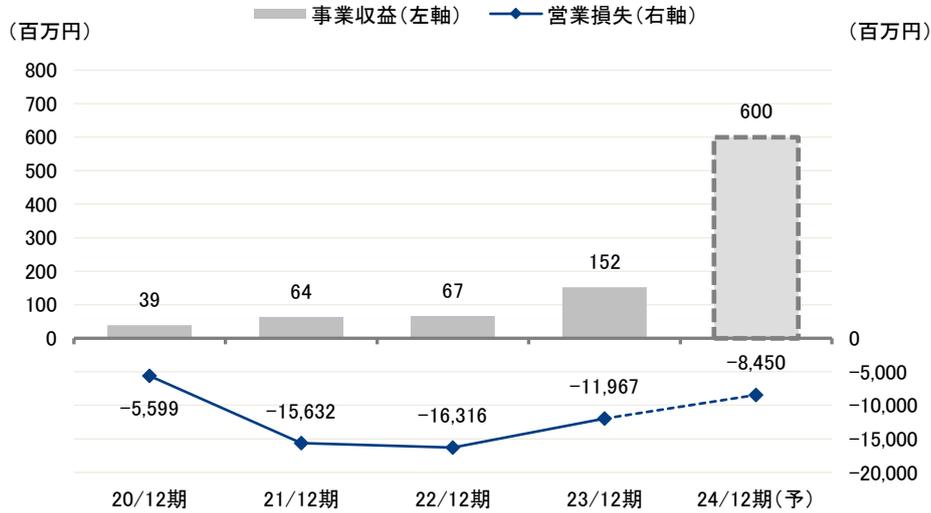
※2014年の設立で、科学者、エンジニア、ソフトウェア開発者を中心に従業員数は100名を超える。特定の抗原を認識するTCRを発現するT細胞を選別、培養する技術を保有しており、複数のがん標的に対するTCR-T療法のライブラリーを持ち、40を超える製品候補を抱えている。これまでに150百万米ドルの資金調達を行った。

### Key Points

- ・ HGF 遺伝子治療用製品は米国治験で想定を大きく上回る結果が得られ、米大手製薬企業とのパートナー契約締結を目指す
- ・ 早老症治療剤「ゾキンヴィ」は2024年12月期第2四半期に151百万円を売上計上
- ・ 希少遺伝性疾患検査はスクリーニング検査から遺伝学的検査、バイオマーカー検査までワンストップで提供する方針
- ・ Emendo の事業構造改革により2024年12月期の営業損失は縮小の見通し

要約

連結業績推移



出所：決算短信よりフィスコ作成

## ■ 会社概要

### 遺伝子医薬の開発に特化した大阪大学発のバイオベンチャー

#### 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、HGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用の研究成果を事業化することを目的としている。HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン」において、田辺三菱製薬と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た。2019年3月に国内で慢性動脈閉塞症患者向けに条件及び期限付き承認を取得し、同年9月から田辺三菱製薬を通じて販売を開始、2023年5月には条件付きの解除に向けた承認申請を行ったが、製造販売後承認条件評価（市販後調査）の結果、第3相臨床試験の成績を再現できなかったことから2024年6月に申請を一旦取り下げ、開発戦略の変更を発表した。また、米国では2019年11月より実施していた後期第2相臨床試験において良好な結果が得られたことを2024年6月に確認している。なお、2024年8月に田辺三菱製薬との日米における独占的販売権許諾契約を解消することを発表した（日本は2024年11月1日、米国は2025年2月1日。解消日が異なるのは日本が3ヶ月前、米国が6ヶ月前告知ルールのため）。

## 会社概要

そのほかのパイプラインでは、核酸医薬品である NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA について、米国で慢性椎間板性腰痛症を対象に 2018 年より後期第 1 相臨床試験を実施して良好な結果を得たことから、2023 年 3 月に塩野義製薬 <4507> と国内での協力契約を締結、同年 10 月より第 2 相臨床試験を開始した。また、2022 年 5 月に米 Eiger BioPharmaceuticals, Inc. (以下、アイガー) と希少遺伝性疾患で乳児早老症とも呼ばれる HGPS (ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群) 及び PDPL (プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー) を適応症とした治療剤「ゾキンヴィ」の国内での販売契約を締結し、2024 年 1 月に製造販売承認を取得し同年 5 月より販売を開始した。なお 2022 年 9 月に、国内で進めていた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を発表、併せて新型コロナウイルス感染症の変異株を含むウイルス性肺疾患を対象とした改良型 DNA ワクチンの経鼻投与製剤について、米スタンフォード大学と共同研究契約を締結した。

M&A・アライアンス戦略として、2018 年にカナダの Vasomune Therapeutics, Inc. (以下、Vasomune) と共同開発契約を締結し (2023 年 3 月に 273 百万円を出資)、新型コロナウイルス感染症及び ARDS (急性呼吸窮迫症候群) を対象とした治療薬候補品「AV-001」(Tie2 受容体アゴニスト) の開発を進めている。また、2018 年にはマイクロバイオームの研究開発を行うイスラエルの MyBiotics Pharma Ltd. に出資した (2022 年 11 月に転換社債 74 百万円を引き受け、減損処理済み)。2020 年には、ゲノム編集技術により希少遺伝性疾患の治療薬開発を目指す米 Emendo の株式を取得し子会社化した。

医薬品開発以外の事業としては、2021 年 4 月に新生児の希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所 ACRL を開設し、CReARID と連携して、オプションスクリーニング検査の受託サービスを提供している。

## 会社概要

## 会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療用製品、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 リミテッドを設立（2019年に清算）
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 BioMarin Pharmaceutical 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（2019年に販売権を BioMarin Pharmaceutical の日本法人に承継）
2010年12月	NF-κB 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
2015年 6月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療用製品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
2018年 1月	国内で慢性動脈閉塞症を対象疾患とした HGF 遺伝子治療用製品について条件及び期限付き承認制度を活用した再生医療等製品の製造販売承認申請を行う
2018年 7月	カナダの Vasomune と提携し、急性呼吸不全等の治療薬に関する共同開発契約を締結 イスラエルの MyBiotics Pharma と資本提携
2019年 3月	国内で慢性動脈閉塞症における「潰瘍の改善」を効能とした HGF 遺伝子治療用製品の条件及び期限付き承認を取得 先進ゲノム編集技術を有する米国の EmendoBio と資本提携
2019年 9月	国内で HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン®」の販売を開始
2020年 3月	大阪大学と共同で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの開発を開始（2022年9月中止発表）
2020年12月	EmendoBio を完全子会社化 Vasomune と共同開発を進めている新型コロナウイルス感染症及び ARDS 治療薬「AV-001」の第1相臨床試験を開始
2021年 4月	国内で希少遺伝性疾患を対象としたスクリーニング検査を行う衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー」を開設
2022年 4月	東京証券取引所グロース市場に移行
2022年 5月	希少疾患治療薬「ゾキンヴィ」に関する国内の独占販売契約を米 Eiger BioPharmaceuticals と締結
2023年 3月	塩野義製薬と国内における慢性腰痛症を対象とした NF-κB デコイオリゴの第2相臨床試験に関する協力契約を締結
2023年 5月	国内で「コラテジェン®」と「ゾキンヴィ」の製造販売承認を申請
2023年10月	国内で慢性腰痛症を対象とした NF-κB デコイオリゴの第2相臨床試験を開始
2024年 1月	「ゾキンヴィ」の製造販売承認を取得
2024年 3月	EmendoBio が Anocca と OMNI-A4 ヌクレアーゼの非独占的ライセンス契約を締結
2024年 6月	国内における「コラテジェン®」の開発販売戦略を変更

出所：有価証券報告書、会社資料よりフィスコ作成

## 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用製品、核酸医薬、そして DNA ワクチンを遺伝子医薬として定義し、社会的な使命であるととも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」を開発対象領域としていることにある。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などの研究機関から導入して、開発パイプラインの強化とリスク分散を図っている。

会社概要

同社のビジネスモデルは、研究開発に特化し（製造は外部の専門機関に委託）、開発品についての共同開発や独占的製造販売権許諾契約を大手製薬企業と締結することで、契約一時金や開発の進捗状況に応じたマイルストーン収入や、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を獲得することを主軸としている。臨床試験の規模や期間は対象疾患等によって異なるが、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。新薬開発の成功確率は低く、基礎研究段階に特定したリード化合物が新薬として発売される確率は、約3万分の1と言われている。

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

希少遺伝性疾患の検査受託サービスでは、新生児の希少遺伝性疾患を調べるための拡大新生児スクリーニング検査を提携先の CReARID を通じて受託している。スクリーニング検査で要精密検査となれば遺伝学的検査（確定検査）を行う。スクリーニング検査やその後の確定検査によって発症前の早期段階から治療を始めることで、症状の進行を抑える効果が期待できる。検査対象となる疾患は、自治体が公費で実施するマススクリーニング検査（20 疾患が対象）以外の希少遺伝性疾患で、希望者に対して有償で検査を実施している。現在検査可能な疾患はムコ多糖症やファブリー病（男子のみ）など9 疾患<sup>※1</sup>だが、今後拡充する考えだ。CReARID の検査数は連携医療機関の増加や認知度向上もあって年々増加傾向にあり<sup>※2</sup>、2023 年度（2023 年 4 月～2024 年 3 月）は約 3.4 万件の検査を実施し（2020 年度約 1.2 万件、2021 年度約 1.7 万件、2022 年度約 2.0 万件）、このうち同社で約 2 万件の検査を受託した。CReARID によれば、約 3.4 万件の検査のうち要検査判定が出たのは 56 件で、その後の精密検査で 8 件が確定診断されたと言う。

※1 ムコ多糖症 I 型、II 型、IV A 型、VI 型、ポンペ病、ファブリー病、副腎白質ジストロフィー、脊髄性筋萎縮症、重症複合免疫不全症の 9 つの疾患を対象に検査を実施している。

※2 連携医療機関は 2024 年 8 月時点で首都圏を中心に 103 施設（12 都道府県）あり、検査実施率は院内出産児の 6～8 割程度となっている。

## ■ 主要開発パイプラインの動向

同社の主要開発パイプラインには、HGF 遺伝子治療用製品、NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA や、提携先の Vasomune と共同開発中の Tie2 受容体アゴニスト、アイガーから導入した「ゾキンヴィ」がある。

主要開発パイプラインの状況

プロジェクト	地域	導出先・提携先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用製品	日本	田辺三菱製薬*	慢性動脈閉塞症	2024年6月に条件・期限付き製造販売の条件解除に向けた本申請を取り下げ。米国での開発動向を見て今後の方針を検討。
	米国	田辺三菱製薬*	慢性動脈閉塞症	第2b相臨床試験(2019年11月~2024年3月、症例数75例)を完了、2024年6月に良好な結果を確認。
	イスラエル	Kamada	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Kamada も製造販売承認申請を取り下げ
	トルコ	Er-Kim	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Er-Kim も申請準備を一旦中止
NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA	米国	-	慢性椎間板性腰痛症	米国で第1b相臨床試験完了(25例、2018年2月~2021年)
	日本	塩野義製薬	慢性椎間板性腰痛症	日本で第2相臨床試験について塩野義製薬と開発協力契約を締結。2023年6月より開始(予定症例数92例)。
DNA ワクチン(治療用)	オーストラリア	-	高血圧	オーストラリアで第1/2a相臨床試験完了(24例、2018年~2021年)技術的課題の改善策を検討中
DNA ワクチン(予防用)	米国	-	COVID-19	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実施中(2022年9月~、3年間の予定)
Tie2 受容体アゴニスト「AV-001」	米国	Vasomune	COVID-19 及び ARDS	2018年7月に Vasomune と共同開発契約を締結、北米で第2a相臨床試験を2022年1月より開始。(予定症例数60例)
ゾキンヴィ(ロナファルニブ)	日本	Eiger(導入元)	早老症(HGPS・PDPL)	Eigerの治験データを援用して、2023年5月に販売承認申請、2024年1月に承認取得、同年5月に販売開始

※ 日本は2024年11月1日、米国は2025年2月1日で契約解消が決定

注：出典は、IMS Health、Foster Rosenblatt、Health Policy Institute 及び Pain Med.、IQVIA、AHA Journals、Am J Resp Crit Care Med.

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

## HGF 遺伝子治療用製品は米国治験で想定以上の結果が得られ、米大手製薬企業とのパートナー契約締結を目指す

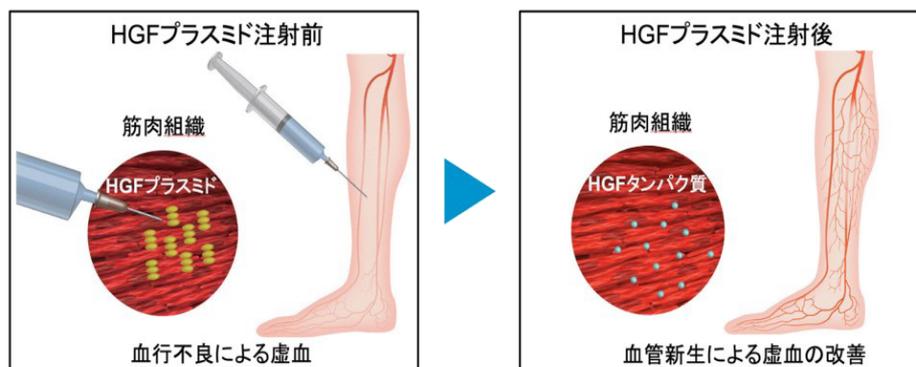
### 1. HGF 遺伝子治療用製品

HGF 遺伝子治療用製品は血管新生作用の効果を活用して、閉塞性動脈硬化症のなかでも症状が進行した慢性動脈閉塞症向け治療薬として開発が進められてきた。慢性動脈閉塞症とは、血管が閉塞することによって血流が止まり、組織が潰瘍・壊疽を起こして最終的に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。カテーテル治療や血管バイパス手術などが行われるが、手術ができないケースも多く、新たな治療法の開発が望まれている。

主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品は、血管が詰まっている部位周辺に複数回注射投与することによって新たな血管を作り出し、血流を回復させることで潰瘍の改善を図るものである。国内では 2019 年 3 月に「標準的な薬物治療の効果不十分で、血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能、効果または性能として、条件及び期限付き承認を取得し、同年 9 月より「コラテジェン® 筋注用 4mg」として提携先の田辺三菱製薬を通じて販売を開始した。用法は、虚血部位に対して筋肉内投与を 4 週間間隔で 2 回行い (4mg/ 回)、症状が残存する場合には 4 週間後に 3 回目の投与もできる (薬価は約 61 万円 / 1 瓶 (4mg))。

HGF 遺伝子治療用製品による血管新生



出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

条件及び期限付き承認となるため、製造販売後承認条件評価を実施し、同結果をもって 2023 年 5 月に本承認の申請を行ったが、二重盲検の国内第 3 相臨床試験成績を再現できなかったことから、2024 年 6 月に申請を一旦取り下げた。今回の承認申請取り下げによって、国内での「コラテジェン」の販売は終了となる。ただ、製品売上高は 2023 年 12 月期実績で 23 百万円と少ないため、販売終了による 2024 年 12 月期業績への影響は軽微である。国内の開発戦略は今後の米国での開発動向を見て決定する方針だ。

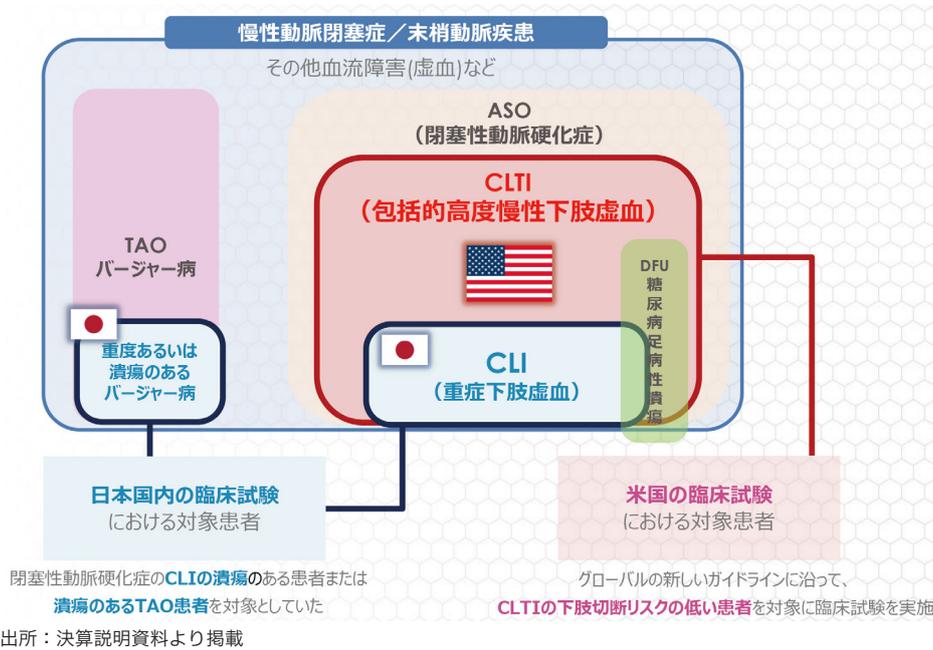
弊社では今回の開発戦略変更について、米国で実施した後期第 2 相臨床試験で想定以上の好結果を得られたことが影響したものと推察している。国内では下肢切断リスクの高い重度の患者※<sup>1</sup>を対象としてきたが、米国では 2019 年 6 月に改定された包括的高度慢性下肢虚血に関するグローバル治療指針※<sup>2</sup>や治験担当医師の提案を踏まえて、下肢切断リスクの低いステージ 1 ~ 2 の患者を対象に臨床試験を実施した。治験担当医師は、重症下肢虚血の患者はがんと同様に早期に治療を開始することが重要との仮説を立てたようで、治験結果でその仮説が証明されたようだ。

※<sup>1</sup> 投与対象肢の動脈に閉塞又は狭窄部位が認められ、かつ潰瘍を有していること (平均 10mm 程度、最大約 30mm まで)。血行再建術の適応が困難なこと。既存の内科的治療や処置による症状改善が認められないこと。血行動態の指標が一定水準以下であることなど。

※<sup>2</sup> グローバル治療指針 (Global Vascular Guideline : GVG) : 包括的高度慢性下肢虚血 (CLTI : Chronic limb-threatening ischemia) の初期段階から適切な治療マネジメントを提供することで患者の QOL の向上を図ることを推奨している。当ガイドラインでは臨床ステージを 4 段階 (clinical stage1 ~ 4) に分け、それぞれのステージにおける治療方針が示されており、米国での後期第 2 相臨床試験は下肢切断リスクの低い clinical stage1 と 2 を対象とした。このステージの患者には、まず潰瘍の治療を考慮することがガイドラインで推奨されている。

主要開発パイプラインの動向

日本と米国の臨床試験における疾患の範囲



米国の後期第2相臨床試験では、主要評価項目として「潰瘍の改善」と「血流の改善」を設定し、HGF 遺伝子治療用製品またはプラセボを4週間の間隔を置いて4回投与する二重盲検比較試験を実施した。被験者を4mg/回、8mg/回、プラセボの3群に分け12ヶ月の観察期間を設けてデータ収集を行った（被験者数は途中脱落も想定して全75例を組み入れ）。当初は2024年4～6月にトップラインデータを発表する予定であったが、想定以上の好結果が得られたことで、治験担当医師が論文を作成し、2024年秋頃に権威ある学会や学術紙で発表する予定だ。同社もそれを受けて発表する。治験結果については、4mg/回の投与群でも明確な有効性が確認できたほか、潰瘍の状態についても改善だけに留まらず治癒した例も多くあったようだ。日本の臨床試験結果との違いに関して、同社では被験者の症状（軽度から中等度を対象）や投与回数（4回）の違いに加えて、経過観察期間中の患者の管理体制の違いが影響したのではないかと推察している。米国ではブーツを履くことで患部を保護していたほか、週1度の診察を受けるなどフォローアップ体制も万全だった。

米国における今後の開発方針は、FDAとのミーティング（2024年10～11月頃）を行ったうえでの決定となる。9月18日付でFDAよりブレイクスルーセラピーに指定されたことを発表しており、第3相臨床試験を実施する場合、プロトコルの設定などに関する協議を優先的に行えるほか、後期第2相臨床試験で明確な有意差を得られたことから症例数も同等程度となる可能性があり、治験期間は被験者組み入れで1～2年、経過観察期間も含めれば2～3年になると同社では見積もっている。審査も通常より短期間で実施されるため、順調に進めば2028年頃に上市される可能性がある。また、有効性・緊急性があると判断されれば第3相臨床試験を行わずに、市販後調査を行う条件付きで製造販売承認されることも考えられる。

#### 主要開発パイプラインの動向

米国での販売パートナー選定に関して治験担当医師からは、米国での閉塞性動脈硬化症の患者は退役軍人専門の医療施設に多く、これら医療施設に日系企業が新規にマーケティング活動を行う場合、相当の時間を要する。スムーズにこれら医療施設への販売を進めるためには、既に太いパイプを持つ米国大手製薬企業を販売パートナーとすることが望ましいとの助言があった。また、同疾患に対する新薬は20年間出ていないことや、対象患者は糖尿病を患っている患者が多いこともあり、糖尿病治療薬を持つ製薬企業にとっては魅力的に映ることも理由だ。このため、同社は米国での販売パートナー候補の探索に着手しており、2025年2月以降の早期契約を目指している。第3相臨床試験に進んだ場合、パートナー先が決まっていれば開発資金を軽減できる可能性がある。

日本における開発方針については、国内の第3相臨床試験結果と米国における後期第2相臨床試験の結果を中心として、新たな申請データパッケージを構築し、改めて製造販売承認の申請に向けて準備を進めていくが、米国での今後の開発動向が大きく影響するものと考えられる。また、大手製薬企業との契約が締結されれば、欧州市場での展開も予想される。

「コラテジェン」の市場規模については、米国だけで少なくとも数百億円規模になると弊社では試算している。同社では対象患者数を現時点で数万人規模と見込んでおり、これに国内の薬価(約61万円/1瓶(4mg))×4回を掛け合わせた。米国で開発に成功すれば、日本や欧州にも展開していくため、世界では1千億円を超えるブロックバスターになる可能性もある。まずは2024年秋に発表予定の治験結果の内容に注目したい。

## 早老症治療剤「ゾキンヴィ」は 2024年12月期第2四半期に151百万円を売上計上

### 2. ゾキンヴィ

同社は、HGPS 及び PDPL 治療剤「ゾキンヴィ」について、2024年1月に厚生労働省より製造販売承認を取得し、2024年5月27日より販売を開始した。乳児早老症とも言われる HGPS は LMNA 遺伝子の突然変異により、ファルネシル化<sup>\*</sup>された変異タンパク質であるプロジェリンが生成されることによって発症し、症状としては深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、骨格形成不全、動脈硬化の促進などがある。平均寿命は 14.5 歳と報告されている致死性の高い疾患である。また、PDPL は LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異によりプロジェリンに類似したファルネシル化タンパク質を生成し老化を促進する。「ゾキンヴィ」は、核膜と強固な結合を形成するファルネシル化した変異タンパク質（核の不安定化と早期老化を惹起）の蓄積を阻害する作用を持ち、HGPS 患者の死亡率を 72% 減少させ、平均生存期間を 4 年程度延長させるというデータもある。安全性については、多くの患者が 10 年以上にわたって「ゾキンヴィ」治療を継続しており、副作用も嘔吐や下痢、悪心等その大半が軽度または中等度のものである。なお、HGPS 及び PDPL の世界における患者数は 600 人程度で、日本でも難病指定され、患者数は数名程度と報告されている。

<sup>\*</sup> タンパク質に行われる修飾の一種。ファルネシル化酵素により、タンパク質の末端には疎水性のプレニル基が結合する。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分を細胞膜内に挿入するため、タンパク質は細胞膜（細胞の内側）につなぎ留められる。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞の内側の細胞膜上に存在するようになる。

「ゾキンヴィ」の患者 1 人当たりの年間売上高は薬価ベースで 1 億円強（卸販売会社経由での販売となるため、同社の売上高はやや割引かれる）が見込まれる。現在、6 人の患者がリストアップされ、順次服薬を開始しているようで、2024年12月期第2四半期の売上高は 151 百万円、仕入原価として 100 百万円を計上した。なお、仕入れについては円建てで行っているため、為替変動の影響は受けない。また、「ゾキンヴィ」の導入先であったアイガーが 2024年4月に経営破綻したことに伴い、「ゾキンヴィ」の権利が米国のバイオ医薬品会社である Sentyln Therapeutics, Inc. に譲渡されたが、同社がアイガーと締結した契約についても Sentyln が継承することになり、今後も日本で同社が同じ条件で販売することに変わらない。

## NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA は慢性椎間板性腰痛症を対象とした 第 2 相臨床試験の結果が 2026 年前半にも判明する見通し

### 3. NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA

NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA（開発コード：AMG0103）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となるタンパク質（NF- $\kappa$ B）に対する特異的な阻害剤である。NF- $\kappa$ B がゲノムの特定の配列領域（炎症を引き起こすゲノム）に結合し、スイッチが入ることで痛みなどの炎症の原因となるタンパク質が生成されるが、NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA を体内に入れることで、炎症を引き起こすゲノムと NF- $\kappa$ B が結合しにくくなり、炎症の原因となるタンパク質の生成を抑制する。

主要開発パイプラインの動向

2023年3月に塩野義製薬と国内第2相臨床試験への協力に関する契約を締結（開発費の一部を負担）し、同年10月から第2相臨床試験を開始した。予定症例数を92例※とし、最初の2例で最大投与量となる20mgの安全性試験を実施、安全性及び忍容性が確認されたことを受け、10mg群、20mg群、プラセボ群の3群（各30例、単回投与）に分類した比較試験を実施する。観察期間は12ヶ月間で、有効性については「痛み」の指標となるNRSスコアの変化で評価する。20ヶ所の医療機関で実施し、2025年内にも被験者登録が完了する見込みとなっている。順調に進めば2026年前半に臨床試験の結果が発表される見通しだ。結果が良好だった場合にはライセンスアウトする意向だが、塩野義製薬との協議次第となる。

※対象者は18～75歳で3ヶ月以上持続する腰痛を有し、腰痛のNRSスコア（自己申告による痛みの指標）が臀部痛や下肢痛のNRSスコアよりも大きく、腰痛に対する保存的治療で効果が不十分な患者とする。スクリーニング時点の腰痛のNRSスコアは4～9の患者（中等度から強い痛み）で、かつ、投与実施日当日及び前日のNRSスコアが4～9の患者。

国内の臨床試験に先駆けて米国で実施した後期第1相臨床試験（プラセボ対照無作為化二重盲検試験、25症例、観察期間12ヶ月）の結果は、安全性及び忍容性に問題がなかったほか、有効性においても投与量3群（0.3mg、3.0mg、10.0mg）のうち最大投与量群において投与後早期に腰痛が大幅軽減し、腰痛の軽減も12ヶ月後まで継続したことが確認された。治験担当医師からも「AMG0103は素晴らしい安全性プロファイルを有し、12ヶ月にわたり腰痛を有意に軽減しており、慢性椎間板性腰痛症に苦しむ患者に対して画期的治療薬となる可能性があると考えています。さらに、腰痛の軽減に加えて、椎間板の高さを回復させる可能性が示唆されたことは注目に値します」とのコメントが得られた。慢性椎間板性腰痛症に関しては、一般療法としてステロイド注射が行われるケースが多いが、同治療薬との比較においても同等以上の効果が得られたようだ。ステロイド注射が一時的な対処療法であるのに対してAMG0103は炎症を抑制する効果があるほか、椎間板の高さも回復することで腰痛の症状が長期にわたって改善したものと考えられる。

**臨床試験の有効性に関する結果**

■腰痛、下肢痛のほか腰痛に伴う日常生活動作障害について PGI-C、RMDQ、ODI など各種評価スケールを用いて評価

腰痛評価において、投与後6ヶ月で用量依存的な腰痛改善効果を確認。経時的には10mg単回投与群で投与後14日で腰痛が投与前と比較し約50%減少、6ヶ月間での中央値では84%軽減し、プラセボ対照群の14%に対して腰痛を有意に改善した（ $p=0.033$ ）。10mg単回投与群は12ヶ月後には腰痛をさらに改善、中央値で97.5%まで軽減し、プラセボ対象群に対して有意差を得られた（ $p=0.045$ ）。

■投与6ヶ月後の椎間板の高さ変化

プラセボ対照群では椎間板が縮小したのに対して、AMG0103投与群では伸長が認められ、椎間板変性を抑制する可能性が示唆された。

■患者自身の満足度評価

投与6ヶ月後で用量依存的な改善が認められ、10mg投与群では12ヶ月の観察期間を通してプラセボ対照群よりも優れていた。PGI-Cスコアでは、10mg投与群がプラセボ対照群と比較して6ヶ月後に平均2.83点（ $p=0.001$ ）、12ヶ月後に平均1.67点（ $p=0.042$ ）改善した。また、日常生活動作障害の評価スケールとなるRDMQスコアでは、投与後6ヶ月後にAMG0103投与群で平均20～50%改善したのに対して、プラセボ対照群は平均15%悪化した。また、投与12ヶ月後も10mg投与群では平均38%改善したのに対して、プラセボ対照群では平均45%悪化した。

■その他

臨床試験参加者は、オピオイドによる自己治療は認められていないが、突発的な痛みに対してレスキュー薬を使用することが認められている。試験期間中にレスキュー薬を使用した被験者は、AMG0103投与群ではいなかった（プラセボ対照群では複数人有り）。

出所：IRニュースよりフィスコ作成

## 主要開発パイプラインの動向

慢性椎間板性腰痛症で苦しむ患者に対しては、現在内服・外用薬治療など対処療法が主に行われている。AMG0103 は単回投与で長期間の効果持続が見込まれるため、患者の QOL 向上にも貢献する。開発に成功すれば、慢性椎間板性腰痛症に使用される世界初の核酸医薬品となる可能性があり、2026 年前半にも発表される臨床試験の結果が注目される。

## 新型コロナウイルス感染症及び ARDS 治療薬「AV-001」は前期第 2 相臨床試験の 2024 年内の終了及び 2025 年のライセンスアウトを目指す

### 4. 新型コロナウイルス感染症及び ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト)

カナダの Vasomune との共同開発品である「AV-001」(Tie2 受容体アゴニスト)※は、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の治療薬として共同開発を進めてきたが、中等度から重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者向けの治療薬としても効果があるとみて、2022 年 1 月より米国で前期第 2 相臨床試験を実施している。ただ、新型コロナウイルス感染症の変異株では重篤な肺炎を発症する感染者が急減したことから、現在は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 ARDS に拡大し (FDA 承認済み)、目標症例数も当初予定の約 120 例から約 60 例に縮小したうえで臨床試験を進めている。60 名を投与量で 3 群に分け、「AV-001」と標準治療薬またはプラセボと標準治療薬のいずれか投与し、安全性及び忍容性と有効性を評価する。

※ 同社は 2018 年 7 月に Vasomune 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「AV-001」の全世界を対象とした共同開発契約を締結した。開発費用と将来の収益を折半し、また、同社が Vasomune に対して契約一時金及び開発の進捗に応じたマイルストーンを支払う契約となっている。ARDS の患者数は米国だけで 26 万人いる。

2024 年 8 月時点でコホート 2 の被験者登録が完了しており、問題が無ければコホート 3 に進む予定である。目標としては 2024 年内に臨床試験を完了し、良好な結果が得られればライセンスアウトする意向だ。臨床試験完了時期が 2025 年前半にずれ込む場合もあるが、ライセンスアウトする候補先企業へのプレゼンテーションも開始しており、臨床試験の結果が良好であれば 2025 年内にも導出が決まる可能性がある。なお、「AV-001」の開発にあたっては米国及びカナダの政府関係機関から Vasomune が助成金を獲得しており、開発費負担分に応じて同社も Vasomune から助成金の一部を受領している。

## ■ EmendoBio の開発状況

### OMNI プラットフォームは ゲノム編集技術のなかでも安全性の高さに強み

#### 1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴

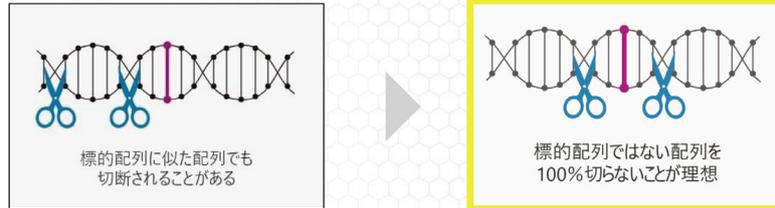
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、狙った遺伝子を改変する技術を指す。2012年に従来より短時間で簡単に標的とする DNA 配列を切断できる CRISPR/Cas9（クリスパーキャスナイン）と呼ばれる革新的な技術が登場したことで、製薬業界においてもゲノム編集技術を用いて新薬の開発を行う動きが活発化した。米 Vertex Pharmaceuticals<VRTX> とスイスの CRISPR Therapeutics<CRSP> が同技術を用いて共同開発した遺伝性血液疾患「鎌状赤血球貧血症※」を適応症とした治療法が、2023年11月に英国、同年12月に米国で初めて承認された。患者から採取した造血幹細胞をゲノム編集技術で遺伝子改変し、それを注射投与で体内に戻すことで治療効果を得る治療法である。

※ 鎌状赤血球貧血症とは、赤血球に含まれるヘモグロビン（酸素の運搬に使われるタンパク質）が遺伝子異常によって変形することで赤血球が鎌状となって壊れやすくなり貧血の症状を起こす疾患。症状が悪化すると壊れた鎌状赤血球によって毛細血管が遮断され激痛が生じるほか、長期にわたる場合、酸素供給量が低下することで臓器にも悪影響を及ぼし、腎不全や心不全を惹き起こすケースもある。米国内の患者数は約10万人で黒人に多いと言われている。従来は、白血球の型である「HLA型」が一致するドナーから造血幹細胞の提供を受ける以外に治療の選択肢がなかった。承認された治療法は、血管閉塞性危機が定期的にかかる12歳以上の患者を対象としている。

CRISPR/Cas9 技術は狙った遺伝子とは異なる箇所（標的 DNA 配列と似た配列）を切断してしまう「オフターゲット効果」があり安全性が課題とされてきたが、今回初承認となったことでハードルを1つクリアした格好だ。これに対して Emendo が独自開発した OMNI プラットフォームは、標的の DNA 配列を高精度に切り取る独自のヌクレアーゼ（OMNI ヌクレアーゼ）を効率的に探索し最適化することで「オフターゲット効果」を回避する安全性の高い技術であることが特徴だ。自社開発したヌクレアーゼのうち250超については特許も申請している。ゲノム編集技術による医薬品の開発を進める場合には、効率性だけでなく安全性も強く求められるため、OMNI プラットフォームは強みになると弊社では評価している。

EmendoBio の開発状況

オフターゲット効果の回避を目指して



オフターゲット効果を回避することが重要

- オフターゲット効果低減のために、
- ゲノム内に標的配列に類似した配列がないか検索
  - 類似配列が存在する標的は避け、別の標的配列を探す

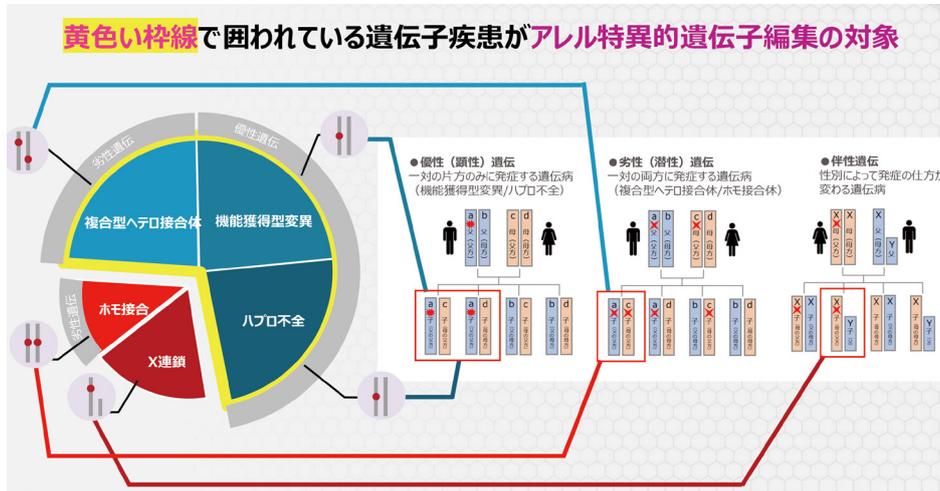
これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう  
“オフターゲット効果”が懸念されていましたが、  
Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果のない、  
安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

出所：決算説明会資料より掲載

また、もう1つの特徴としてアレル特異的遺伝子編集が可能なが挙げられる。アレル特異的遺伝子編集とは、対をなすアレル（対立遺伝子）の一方を傷つけることなく、異常のある遺伝子のみをターゲットにして編集することを言う。ヒトは父型と母型の2つのアレルを一对で持っており、片方のアレルが異常配列となることで発症する遺伝病を優性遺伝（機能獲得型変異 / ハプロ不全）、両方のアレルに必要な遺伝子が欠損することで発症する遺伝病を劣性遺伝（複合型ヘテロ接合体 / ホモ接合体）、または伴性遺伝（性別によって発症の仕方が異なる遺伝病）と呼ぶ。遺伝性疾患のうち、アレル特異的遺伝子編集の対象となるのは優性遺伝と劣性遺伝のうちの一部であり、遺伝性疾患の過半を占める。これは OMNI プラットフォームを活用したゲノム編集による治療法の開発領域が幅広いことを意味する。Emendo の調べによれば、遺伝性疾患の治療薬の市場規模は全体で約 2 兆円、このうち 1.1 兆円が OMNI プラットフォームの対象領域になり得ると見ており、潜在的な成長ポテンシャルは極めて大きい。ゲノム編集技術を用いた開発が活発化するなかで、OMNI プラットフォームに対する注目度も一段と高まることが期待される。

EmendoBio の開発状況

見込まれる適応症



出所：決算説明会資料より掲載

## Emendo は OMNI 技術のライセンサーとして収益化を目指す方針

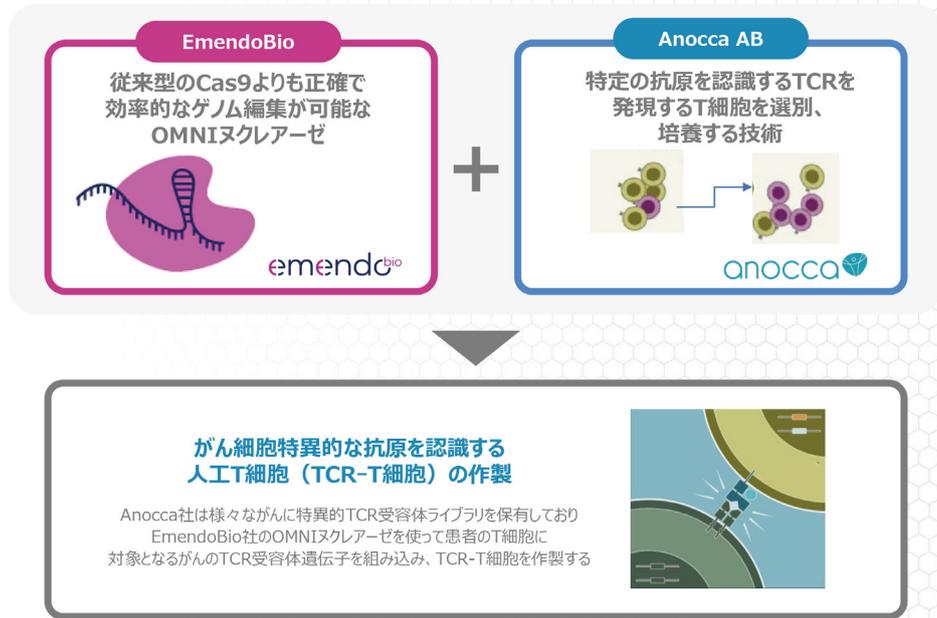
### 2. 事業戦略

Emendo は 2023 年まで独自の OMNI ヌクレアーゼの開発にあたり、その探索と最適化を労働集約的に行ってきたため、開発人員が 100 名を超えていた。現在はこれまで蓄積した大量のデータベースとコンピューティング技術を活用した知識集約型の研究開発体制に移行しており、イスラエルの研究所の人員も 2024 年 6 月末時点で 23 名までスリム化し（一部はパレスチナ紛争で徴兵されたケースもある）、ゲノム編集技術に関する研究者と IT エンジニアで構成されている。今後の事業戦略としては財務状況を鑑み、これまで開発してきた 250 を超える OMNI ヌクレアーゼや OMNI プラットフォームのライセンス活動に集中し、自社での治療薬の開発は一旦、凍結した。

ライセンス契約に関しては、2024 年 3 月にがん免疫療法の一つである遺伝子改変 T 細胞療法※のなかでも固形がんにも効果があるとされる TCR-T 細胞療法の開発で業界をリードするスウェーデンの Anocca と、OMNI-A4 ヌクレアーゼの使用権についての非独占的ライセンス契約を締結した。Anocca は OMNI-A4 ヌクレアーゼを用いて、難治性固形がんにおける KRAS 変異を標的とした初の臨床試験を 2024 年に開始する予定だ。Anocca では、ゲノム編集技術として OMNI プラットフォームと CRISPR/Cas9 の両方の技術を試した結果、OMNI プラットフォームを高く評価し、今回の契約に至っている。今回の契約締結によって Emendo は契約一時金 (50 万米ドル) と開発マイルストーンを合わせて総額で最大約 100 万米ドルを受領する可能性があり、製品が販売された場合にはロイヤリティも受領することになる。

※ 遺伝子改変 T 細胞療法とは、患者自身から取り出した T 細胞内にがん抗原特異的 T 細胞受容体 (TCR) やキメラ抗原受容体 (CAR) を遺伝子改変操作によって発現させ、同細胞を増殖させて体内に戻すことでがん細胞を攻撃する治療法。国内では CAR-T 細胞療法の「キムリア®」(ノバルティス ファーマ(株)) が 2019 年に製造販売承認されている。CAR-T は血液がん領域、TCR-T は固形がん領域で副作用の少ない治療法として開発が進められている。

EmendoBio の開発状況



出所：決算説明資料より掲載

そのほかの企業との契約交渉についても、特定の開発プロジェクトでOMNI技術を利用したい企業と、複数の開発プロジェクトで包括的に同技術を利用したい企業等がある。Emendoでは疾患別に非独占的ライセンス契約を締結し、幅広い企業や医療機関等で同技術を活用してもらい、遺伝性疾患の治療技術の進歩に貢献したい考えだ。また、米国のアカデミアと連携してがん免疫療法分野における研究を本格的に開始する予定で、良好な研究成果を得ることができればライセンス契約につながる可能性がある。なお、今まで自社開発を進めてきたパイプラインについても、ライセンスアウトに向けて候補先企業等の探索を進めている状況だ。

Emendo の開発パイプライン

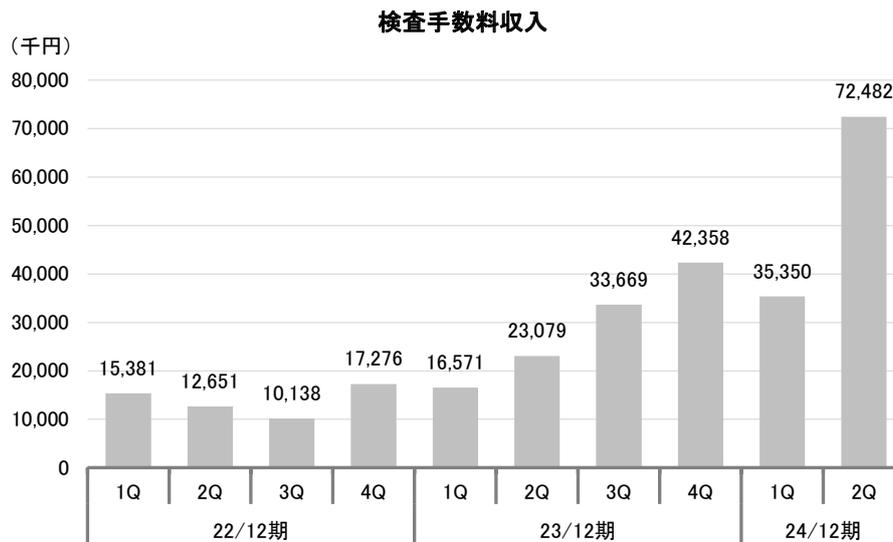
開発パイプライン	開発コード	開発ステージ	共同開発先
<b>(血液疾患)</b>			
ELANE 関連重症先天性好中球減少症	EMD-101	IND 申請前段階	ワシントン大学
<b>(眼疾患)</b>			
網膜色素変性症	EMD-201	前臨床試験	コロンビア大学
錐体桿体ジストロフィー	EMD-202	前臨床試験	単独
黄斑ジストロフィー	EMD-203	前臨床試験	単独
<b>(肝疾患)</b>			
家族性高コレステロール血症	EMD-301	前臨床試験	単独
高脂血症	EMD-302	リードの最適化	単独

出所：Emendo ホームページよりフィスコ作成

## ■ ACRL の取り組み状況

### 希少遺伝性疾患検査はスクリーニング検査から遺伝学的検査、バイオマーカー検査までワンストップで提供する方針

2021年7月よりACRLで開始した希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査については、検査数が2022年12月期の1万件から2023年12月期は2万件となり、2024年12月期も4～5万件と2倍強のペースで拡大する見込みである。2024年12月期第2四半期の手数料収入は72百万円と前年同期比で3倍増と急伸し、第3四半期以降も新たに群馬県健康づくり財団と受託契約（2024年8月1日～）を締結したことで、さらなる増加が見込まれる。通期では前期の115百万円から250百万円前後まで拡大する勢いで、サービス開始以降はじめて黒字化する見通しだ。



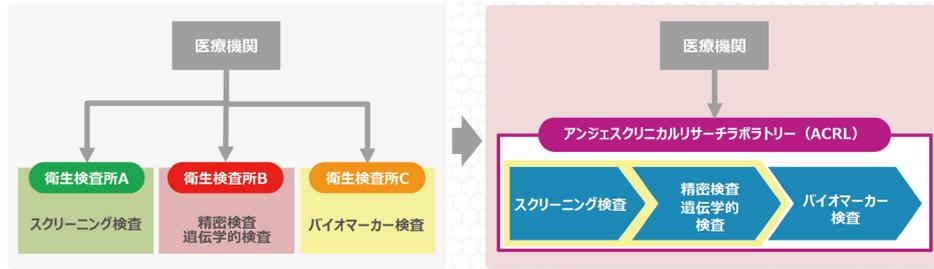
出所：決算短信よりフィスコ作成

現在も複数の自治体と交渉を進めており、2024年内に新たな契約を締結できる見通しだ。国内のオプションスクリーニング検査の対象疾患数は最大で9疾患となっているが、すべての疾患に対応していない自治体もある。同社は9疾患すべて、または検査対象から外れている疾患のみを対象とした検査を自治体から受託する。また、公費で実施している新生児マススクリーニング検査において、オプションスクリーニング検査の対象であった脊髄性筋萎縮症と重症複合免疫症の2つの疾患を加えることが国の方針として決まったが検査体制が整っていない自治体も多く、こうした自治体からの受注も期待できる。一方で、検査能力も限界に近づきつつあることから、検査機器の投資と人員増強を図ることで2026年までに年間6万件まで処理能力を拡大することを目標としている。

ACRL の取り組み状況

また、検査領域拡大の取り組みとして、「ゾキンヴィ」の販売開始に合わせて HGPS 及び PDPL を対象とした遺伝学的検査を 2024 年 7 月より開始した。現在スクリーニング検査を実施している疾患についても環境が整い次第、開始する。スクリーニング検査と遺伝学的検査の両方を実施している衛生検査所がなく、医療施設からの要望が強いためだ。なお、同社はスクリーニング検査で要検査となった新生児に対する二次スクリーニング技術を開発したことを 2024 年 8 月に開催された日本マススクリーニング学会 学術集会で発表し、同社研究員が「若手優秀演題賞」を受賞した。ACRL で実施しているムコ多糖症の一次スクリーニング検査で要検査となった新生児について、遺伝学的検査を行う前に二次スクリーニング検査を実施することで、要検査者を従来の 10 分の 1 以下に絞り込むことができる。具体的には、一次スクリーニング検査で用いたろ紙血を使って疾患に關与する物質を測定し、遺伝学的検査の必要性を判別する。新生児や家族、医療従事者等の負担軽減につながる技術として 2025 年以降に実用化していくほか、ムコ多糖症以外の疾患についての開発も進める予定だ。また、今回二次スクリーニング技術として開発したバイオマーカー検査を治療効果のモニタリングに応用し、希少遺伝性疾患検査のワンストップ体制の構築を目指す。同社はこれら検査事業を行うなかで、希少遺伝性疾患に関する新たな治療薬候補品を見出していく考えだ。

希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供



出所：決算説明資料より掲載

## 業績動向

### 研究開発費の減少により 2024年12月期第2四半期累計の営業損失は縮小

#### 1. 2024年12月期第2四半期累計の業績概要

2024年12月期第2四半期累計の事業収益は347百万円（前年同期比296百万円増）、営業損失は5,107百万円（同843百万円減）、経常損失は3,190百万円（同1,586百万円減）、親会社株主に帰属する四半期純損失は3,500百万円（同1,329百万円減）となった。

## 業績動向

## 2024年12月期第2四半期連結業績

(単位：百万円)

	23/12 期 2Q 実績	24/12 期 2Q 実績	前年同期比		主な変動要因
			増減率	増減額	
事業収益	51	347	578.5%	296	ACRL 手数料収入 (+68)、ゾキンヴィ (+151)、 契約一時金 (+76)
事業費用	6,002	5,455	-9.1%	-546	
売上原価	58	199	242.6%	141	コラテジェン (-3)、ACRL (+44)、 ゾキンヴィ (+100)
研究開発費	3,164	2,245	-29.0%	-918	給与及び手当 (-329)、外注費 (-233)、 支払手数料 (-122)
販管費	2,780	3,009	8.3%	229	のれん償却額増加 (+190)、支払手数料 (+129)
営業損益	-5,951	-5,107	-	843	
経常損益	-4,776	-3,190	-	1,586	為替差益 (+826)、補助金収入 (-46)、 株式交付費 (+22)
特別損益	-1	-227	-	-226	事業構造改革費用 (+230)
親会社株主に帰属する 四半期純利益	-4,830	-3,500	-	1,329	

出所：決算短信よりフィスコ作成

事業収益は、希少遺伝性疾患に関するオプションスクリーニング検査の手数料収入が前年同期比 68 百万円増加の 107 百万円と順調に拡大したことに加え、「ゾキンヴィ」の売上 151 百万円、Anocca からのライセンス契約一時金の受領等による研究開発事業収益 76 百万円を計上したことが増収要因となった。「コラテジェン」の売上は同横ばいの 11 百万円となったが、既述のとおり国内での本承認申請を取り下げたことで販売を一旦終了した。

売上原価は前年同期比 141 百万円増加の 199 百万円となった。「コラテジェン」の売上原価は前年同期に計上した在庫廃棄損がなくなったことにより 3 百万円減少したが、ACRL の売上原価が 44 百万円増加したほか、「ゾキンヴィ」の仕入原価 100 百万円が増加要因となった。

研究開発費は前年同期比 918 百万円減少の 2,245 百万円となった。Emendo の事業構造改革に伴い人件費が 329 百万円減少したほか、外注費が 233 百万円、支払手数料が 122 百万円それぞれ減少した。販管費は同 229 百万円増加の 3,009 百万円となった。Emendo の事業構造改革に伴う弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬増加により、支払手数料が 129 百万円増加したほか、為替の円安進行により Emendo ののれん償却額が 1,668 百万円と同 190 百万円増加したことによる。

営業外収支は前年同期比 742 百万円改善した。補助金収入が 46 百万円減少した一方で、Emendo への貸付金の評価替に伴い為替差益が 826 百万円増加した。また、特別損失として Emendo の研究開発部門再編に伴う事業構造改革費用 230 百万円を計上した。

## Emendo の事業構造改革実施により 2024年12月期の営業損失は縮小する見通し

### 2. 2024年12月期の業績見通し

2024年12月期の業績は事業収益で600百万円（前期比447百万円増）、営業損失で8,450百万円（同3,517百万円減）、経常損失で8,450百万円（同2,798百万円増）、親会社株主に帰属する当期純損失で8,650百万円（同1,212百万円増）を見込んでいる。なお、EmendoがAnoccaとライセンス契約を提携したことに伴い、第2四半期において契約一時金が計上されたことから、2024年12月期の連結業績計画を修正した。

#### 2024年12月期連結業績見通し

(単位：百万円)

	23/12期 実績	24/12期	
		計画	前期比増減額
事業収益	152	600	447
営業利益	-11,967	-8,450	3,517
経常利益	-5,651	-8,450	-2,798
親会社株主に帰属する当期純利益	-7,437	-8,650	-1,212
為替レート(円/米ドル)	140	142	

注：24/12期計画は、2024年3月14日公表の修正値

出所：決算短信、会社リリースよりフィスコ作成

事業収益は、ACRLにおける手数料収入の拡大に加えて「ゾキンヴィ」の販売開始や第2四半期までに計上した研究開発事業収益が増加要因となる。ただ、「コラテジェン」の販売を第2四半期で終了したため、「ゾキンヴィ」の売上計上時期によっては通期計画を若干下回る可能性もある。

事業費用に関しては、ACRLの売上拡大に伴う原価増や「ゾキンヴィ」の仕入原価の計上があるものの、Emendoの研究開発部門縮小を主因として研究開発費が前期比20億円程度減少する見込みであり、営業損失の縮小要因となる。ただ、為替が第2四半期まで想定142円/米ドルを上回って推移したため、のれん償却額を含めた外貨建て費用がかさ上げされており、下期の為替水準次第では計画よりも損失額が若干膨らむ可能性はある。一方、前期に営業外収益として計上した新型コロナウイルス予防ワクチン開発に係る補助金収入5,402百万円がなくなるほか、為替差益（前期は745百万円）を見込んでいないことから、経常損失及び親会社株主に帰属する当期純損失は前期から拡大する見通しだ。

## 新たに第三者割当による社債と新株予約権を発行し 当面の事業活動資金を賄う方針

### 3. 財務状況について

2024年12月期第2四半期末の財務状況は、資産合計が前期末比1,217百万円減少の27,675百万円となった。流動資産では、「ゾキンヴィ」を購入したことにより商品を213百万円計上した一方で、事業費用等の支払いにより現金及び預金が2,339百万円減少したほか、使用期限切れによる廃棄が見込まれる材料の評価損計上により原材料及び貯蔵品が379百万円減少した。固定資産は、第2四半期末にかけて円安が進行したことに伴い、米ドル建てとなるEmendoののれんが1,197百万円増加の22,943百万円となった。ただ、為替レートは第2四半期末の160円/米ドルに対して、9月13日時点では140円/米ドルまで円高が進んでおり、今後も同水準が続いたとすると第3四半期末ののれんは200億円を下回ることが見込まれる。

負債合計は前期末比591百万円減少の2,198百万円となった。前期の費用の支払いにより買掛金が146百万円、未払金が165百万円減少したほか、Emendoの事業構造改革費用の支払いにより、事業構造改革引当金が252百万円減少した。純資産合計は同625百万円減少の25,477百万円となった。新株予約権の行使や転換社債型新株予約権付社債の発行等により、資本金及び資本剰余金がそれぞれ936百万円増加したほか、円安に伴い為替換算調整勘定が934百万円増加した一方で、親会社株主に帰属する四半期純損失の計上により利益剰余金が3,500百万円減少した。

第2四半期末の現金及び預金残高が約18億円と資金繰りが厳しくなっていることから、同社は2024年9月に第三者割当による無担保社債1,300百万円及び第45回新株予約権（行使価額修正条項付、潜在株式数12,920万株、当初行使価額63.9円、下限行使価額35.5円）を発行しており、これらで当面の事業活動資金を賄う方針である。新株予約権を当初行使価額ですべて行使した場合、発行株数が54.4%増加し8,268百万円を調達できることになるが、このうち1,300百万円は無担保社債の返済資金に充当する。なお、第44回新株予約権の取得及び消却をあわせて行っているが、2024年7月以降9月末までに当該新株予約権の行使で1,118百万円を調達している。

調達資金の具体的用途として、HGF 遺伝子治療用製品のグローバル展開のための研究開発費用として3,878百万円を見込んでいるほか、「ゾキンヴィ」の製造販売費用、NF-kB デコイオリゴの第2相臨床試験費用、検査事業の能力増強投資などを予定している。このうちHGF 遺伝子治療用製品については既述のとおり、パートナー契約を今後締結できれば、軽減できる可能性がある。

## 業績動向

## 連結貸借対照表

(単位：百万円)

	21/12期	22/12期	23/12期	24/12期 2Q	前期末比
流動資産	21,426	12,896	5,921	3,591	-2,330
(現金及び預金)	17,899	11,035	4,160	1,820	-2,339
固定資産	24,029	25,924	22,971	24,084	1,113
(のれん)	22,675	23,254	21,746	22,943	1,197
資産合計	45,455	38,820	28,892	27,675	-1,217
負債合計	6,821	8,395	2,789	2,198	-591
(前受金)	5,119	5,764	637	638	0
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	38,634	30,425	26,103	25,477	-625
経営指標					
自己資本比率	84.8%	78.1%	90.0%	91.7%	1.7pt
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

## 調達資金の具体的用途

用途	金額 (百万円)	支出予定時期
HGF 遺伝子治療薬のグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	3,878	2024年10月～2026年9月
ゾキンヴィの製造販売費用	807	2024年10月～2026年9月
NF-kB デコイオリゴの国内第2相臨床試験費用	900	2024年10月～2026年9月
検査事業受注拡大のための資金	590	2024年10月～2026年9月
運転資金	2,093	2024年10月～2026年9月

出所：IR ニュースよりフィスコ作成

## ■ 今後の成長戦略

### 治療法がない疾病分野や希少遺伝性疾患などを対象に開発を進め、 遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は経営理念として、「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を開発・実用化し、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する」ことを掲げ、長期ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目指している。

黒字化の時期に関しては、開発パイプラインの進捗状況次第となる。特に、潜在市場規模の大きい米国で HGF 遺伝子治療用製品の開発に成功した場合には、黒字化の蓋然性が一気に高まるだけに、2024 年秋に発表が予定されている後期第 2 相臨床試験の詳細な結果、並びに FDA との協議による今後の開発方針、さらには米大手製薬企業とのライセンス交渉など今後の動向が注目される。また、慢性椎間板性腰痛症を対象とした NF- $\kappa$ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験の結果は 2026 年前半にも判明する見込みで、その内容次第で塩野義製薬への導出の可能性も高まる。希少遺伝性疾患の検査事業については、受託先並びに検査領域の拡大によって 2024 年 12 月期以降は規模は小さいながらも収益貢献する見通しである。Emendo については事業構造改革により知識集約型の研究開発体制に移行し、損失額を最小限に抑えながら、ゲノム編集技術のライセンスビジネスにより収益化を目指す。弊社では、これらの取り組みが順調に進めば 2020 年代後半には連結業績も黒字化する可能性があると考えている。

成長戦略としては、グローバル化に向けた組織強化や人材育成、並びにプラットフォーム技術の深化と拡大に取り組みながら、1) 「コラテジェン」の製品価値最大化、2) パイプラインの継続的拡大、3) 欧米を中心としたグローバル展開の推進、4) 検査事業も含めた希少遺伝性疾患への取り組み強化などにより企業価値向上を目指す。希少遺伝性疾患の検査事業を行うことで同疾患領域での新たな開発品候補を見出し、Emendo の OMNI プラットフォームを活用して治療薬を開発する好循環を作り出すことができれば、「遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す」という同社の長期ビジョン実現の可能性も高まるだけに、今後の展開が注目される。

#### 重要事項（ディスクレマー）

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。

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、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

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・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、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、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

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、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

#### ■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp