

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 >>>](#)

2025年4月2日(水)

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. HGF 遺伝子治療用製品の動向	01
2. ACRL の取り組み状況	01
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	04
■ 主要開発パイプラインの動向	06
1. HGF 遺伝子治療用製品	06
2. NF- κ B デコイオリゴ DNA	09
3. 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)	11
■ EmendoBio の開発状況	12
1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴	12
2. 事業戦略	14
■ ACRL の取り組み状況	16
■ 業績動向	18
1. 2024年12月期の業績概要	18
2. 2025年12月期の業績見通し	20
3. 財務状況について	21
■ 今後の成長戦略	23

要約

HGF 遺伝子治療用製品は 2025 年内に米国で 販売ライセンス契約締結を目指す

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向け拡大新生児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. HGF 遺伝子治療用製品の動向

HGF 遺伝子治療用製品については、米国で実施した後期第 2 相臨床試験 (軽度から中等度の包括的高度慢性下肢虚血 (CLTI) を対象) の良好な結果を受け、2024 年 9 月に米国食品医薬品局 (以下、FDA) からブレイクスルーセラピー※に指定されたこともあり、現在は製造販売承認申請に向けた協議を FDA と進めている状況にある。HGF 遺伝子治療用製品の供給体制等を確認後、申請を行うものと予想される。同疾患の潜在患者数は米国で約 90 万人と推計されており、大手製薬企業との販売パートナー契約についても今後交渉を進める予定で、2025 年内の締結を目指している。なお、学術誌への論文掲載については現在、準備を進めている。順調に進めば 2026 ~ 2027 年頃に上市される可能性がある。期待される売上高は薬価と利用患者数で決まるが、同社では 1 千億円超の売上ポテンシャルがあると見ており、今後の動向が注目される。

※ 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既存の治療法よりも顕著な改善を示す可能性のある開発品が指定を受ける。

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順調に受託件数が増加しており、2024 年 12 月期の売上高は前期比 2.7 倍増の 311 百万円となった。CReARID からの受託に加えて、自治体からの直接受託も新たに開始したことが要因だ。受託自治体数は今後も増える見通しで、2025 年 12 月期の事業収益は前期比 2 倍増が見込まれる。また確定診断※として用いられる遺伝学的検査や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の体制も整備し、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た。同社は検査受託数の拡大に対応するため、事業拠点の移転拡張や検査機器の購入などを行う予定である。

※ 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、その病気の原因であ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)。

要約

3. 業績動向

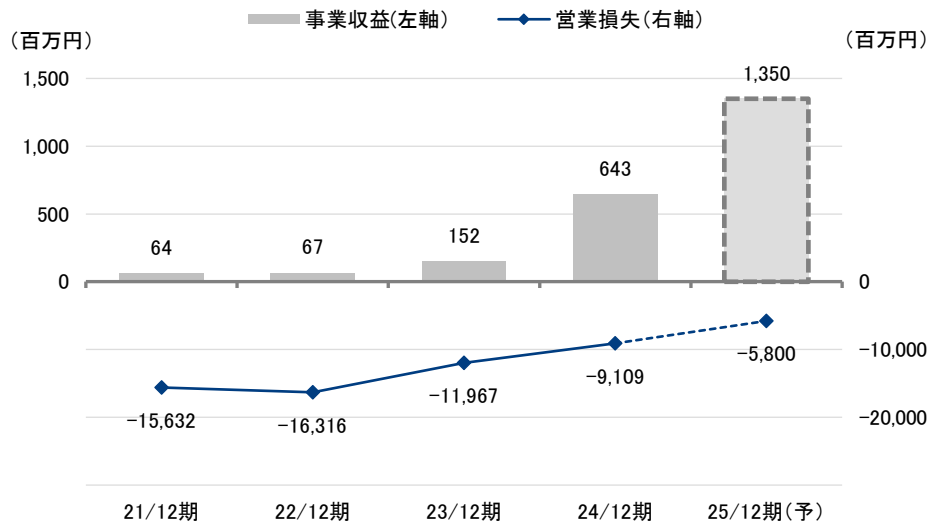
2024年12月期の業績は、事業収益が643百万円（前期比490百万円増）、営業損失が9,109百万円（同2,858百万円減）となった。事業収益は、検査事業の成長や「ゾキンヴィ」の販売開始、スウェーデンのAnocca AB(以下、Anocca) ※からのライセンス契約一時金受領などが増加要因となった。営業損失の縮小は、Emendoの研究開発体制再編等による研究開発費の減少（同2,389百万円減）が主因だ。また、特別損失としてEmendoに係るのれんを全額減損処理したことにより、親会社株主に帰属する当期純損失は28,128百万円となった。2025年12月期の事業収益は1,350百万円（前期比706百万円増）、営業損失は5,800百万円（同3,309百万円減）を見込む。検査事業や「ゾキンヴィ」の売上拡大が増収要因である。研究開発費は若干の増加を見込むものの、のれん償却額（前期3,322百万円）がなくなるため営業損失は縮小する見込みだ。なお、2024年12月末の現金及び預金は1,707百万円となっているが、2024年9月に発行した第三者割当による第45回新株予約権の行使を進めることで、当面の事業活動資金を調達する考えだ。

※ 2014年に設立されたバイオベンチャーで、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細胞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。

Key Points

- ・ HGF 遺伝子治療用製品は承認申請に向け協議中、2025年内の販売ライセンス契約を目指す
- ・ 米スタンフォード大学とゲノム編集技術を用いた新規がん治療法の共同研究を開始
- ・ 2倍増ペースが続く拡大新生児スクリーニング検査は、2025年に能力増強を計画
- ・ 2025年12月期の営業損失はのれん償却負担がなくなり大幅縮小する見通し

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に 1999 年に設立された。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 <MTZPY> と 2012 年に米国市場、2015 年に国内市場で末梢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製造販売承認を取得し、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、米国で実施した後期第二相臨床試験の好成績を踏まえて、戦略的な観点から 2024 年 6 月に申請を一旦取り下げるなど開発戦略の変更を決定し、同年 8 月には田辺三菱製薬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た（解消日は日本が 2024 年 11 月 1 日、米国が 2025 年 2 月 1 日）。

そのほかのパイプラインでは、核酸医薬品である NF- κ 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 月に米国 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、同年 5 月より販売を開始した。

^{*} アイガーが 2024 年 4 月に米連邦破産法 11 条の適用を申請したことに伴い、「ゾキンヴィ」に関する契約は事業承継先である米 Sentyln Therapeutics, Inc. との間で継続することとなった。

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）。さらに、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 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、オプショナルスクリーニング検査の受託サービスを開始した。

アンジェス | 2025年4月2日(水)
 4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

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- 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製造販売承認を取得 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	希少疾患治療剤「ゾキンヴィ」に関する国内の独占販売契約を米国 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- κ B 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- κ B 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 5月	「ゾキンヴィ」の販売を開始
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、同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、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等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り異なるが、第1相から第3相臨床試験までおよそ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・上市といった流れになる。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ほか、2024 年からは自治体を通じた受託も開始した。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。検査対象の疾患は、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※1 だが、随時拡充する考えだ。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※2、2023 年 4 月～2024 年 3 月は約 3.4 万件の検査を実施し（2020 年 4 月～2021 年 3 月は約 1.2 万件、2021 年 4 月～2022 年 3 月は約 1.7 万件、2022 年 4 月～2023 年 4 月は約 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た。

※2 連携医療機関は 2024 年 12 月時点で首都圏を中心に 95 施設（11 都道府県）となっており、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- κ 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	-	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	-	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11月に治験担当医師が学会でトッブラインデータ発表。
	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- κ 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)。
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)。

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：決算説明資料よりフィスコ作成

HGF 遺伝子治療用製品は 2025 年内の販売ライセンス契約目指す

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。現在の治療法としては、カテーテル治療や血管バイパス手術などが行われているが、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る。

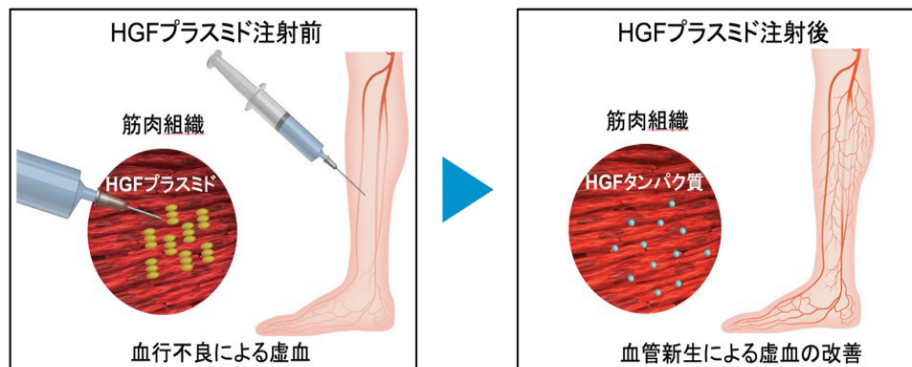
アンジェス | 2025年4月2日(水)
 4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

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が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た。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、製造販売後承認条件評価を実施して 2023 年 5 月に本承認の申請を行った。しかし、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と、米国の良好な後期第 2 相臨床試験の結果を踏まえて、戦略的な観点から 2024 年 6 月に申請を一旦取り下げ、国内での販売を終了した。

※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：会社説明会資料より掲載

弊社では国内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する。国内の臨床試験では重度の患者を対象としていたが、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※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である、との仮説を立てたようだ。

※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。同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



出所：事業計画及び成長可能性に関する事項の開示より掲載

米国の後期第2相臨床試験では、主要評価項目として「治癒までの期間」と「投与後6ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」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者も想定して全75例を組み入れ）。治験結果については、2024年11月の米国心臓病学会にて治験担当医師からトプラインデータが発表された。「治癒までの期間」はプラセボ群に対して、本剤は大幅に短縮できることが確認された。また、「投与後6ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」のほか、「同12ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」及び「同12ヶ月時点の潰瘍再発率」においてもプラセボ群に対する本剤の有効性が確認された。これらの結果は、HGF 遺伝子治療用製品が慢性下肢虚血の早期ステージにおいて有効な治療法であるとの治験担当医師の仮説が正しかったことを証明するものと考えられる。治験担当医師も今回の結果を受けて、「HGF 遺伝子治療用製品が既存治療法の有望な代替手段となる可能性がある」と結論付けている。

なお、治験結果の詳細な内容については、学術誌に論文として掲載する準備を進めており、同社も掲載と併せて同内容を発表する予定にしている。学術誌に論文が掲載されれば、米国で進めている販売パートナー契約交渉や上市に向けて追い風になるが、論文掲載前に詳細な内容を公表すると当該学術誌の投稿規程に抵触し、掲載されなくなるためだ。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（日本は2～3回、米国は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との協議のうえ決定するが、後期第2相臨床試験の結果が想定を上回る好結果であったこと、それにより2024年9月にFDAよりブレイクスルーセラピーに指定されたことなどから、第三相臨床試験を行わずに、製造販売承認申請を行う可能性が高まっている。今後はHGF 遺伝子治療用製品の供給体制等も含めてFDAと協議しながら最終決定を行うことにしているが、同社としては可能な限り早く承認申請を行いたい考えで、HGF 遺伝子治療用製品の製造委託先との協議も並行して進めている。順調に進めば2026～2027年頃に上市される可能性がある。

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、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。対象患者は糖尿病を患っている患者が多いことから、糖尿病治療薬を持つ製薬企業が有力候補である。既に販売パートナー候補の探索に着手しており、2025年内の販売ライセンス契約締結を目指している。

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に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た準備を進めるが、まずは米国での開発を最優先に取り組む方針だ。また、大手製薬企業と契約締結ができれば欧州市場への展開も進むものと予想される。

HGF 遺伝子治療用製品の市場規模については、米国だけで少なくとも1千億円を超える規模になると弊社では試算している。米国での潜在患者数は約90万人で、そのうち治療対象の患者数は数万人規模と見られている。これに国内の薬価（約61万円/1瓶（4mg））×4回を掛け合わせた。ただし、血管再建術による治療コストと同程度になると仮定すれば、さらに4倍以上の規模になるとの見方もあるようだ。米国で上市されれば日本や欧州にも展開し、世界規模ではさらに大きなポテンシャルを持つことになるだけに、今後の動向が注目される。

慢性椎間板性腰痛症を対象とした 第2相臨床試験は2027年に結果発表へ

2. NF-κB デコイオリゴ DNA

NF-κB デコイオリゴ DNA は、人工核酸により遺伝子の働きを制御する「核酸医薬品」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子のタンパク質（NF-κB）に対する特異的な阻害剤である。NF-κB 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であるタンパク質が生成されるが、NF-κB 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-κB が結合しにくくなり、炎症の原因であるタンパク質の生成を抑制する。

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、20mg、プラセボの3群（各30例、単回投与）に分類した比較試験を実施している。観察期間は12ヶ月で、有効性については「痛み」の指標であるNRSスコアの変化で評価する。現在、2025年3月上旬時点で全体の約4割まで被験者登録が進んでいるもようで、治験施設を増やしながらか2025年内の被験者登録完了を目指す。順調に進めば2027年前半にも臨床試験の結果が発表される見通しで、良好な結果が得られ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だ。

※ 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。

主要開発パイプラインの動向

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。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、ステロイド注射が一時的な対症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、椎間板の高さを回復させることで腰痛の症状が長期間にわたって改善した可能性がある。日本の臨床試験では米国の最大投与量を上回る20mg群の試験も行っていることから、好結果を得られる可能性が高いと弊社では見ている。

米国での後期第1相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、プラセボ対照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RMDQ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：同社IRニュースよりフィスコ作成

国内では慢性椎間板性腰痛症で苦しむ患者に対して、内服・外用薬治療など対症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、2027年に発表される臨床試験の結果が注目される。

2025年後半に 治療薬「AV-001」前期第2相臨床試験結果が判明の見通し

3. 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見て、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を投与し、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である。ARDSの患者数は米国だけで26万人を数える。

2024年12月4日付で、米国における独立データ安全性モニタリング委員会から、コホート2の成績において安全性に問題がなく、最終コホートへの移行に関して推奨を受けたことから、現在はコホート3の試験を進めている段階にある。2025年後半には組み入れが完了する予定で、同時に臨床試験結果も判明する見通しだ。良好な結果が得られればライセンスアウトする意向だが、後期第2相臨床試験でも引き続き開発助成金を得られる見通しが立ったことから、独自で臨床試験を進めることも選択肢の1つとして考えている。自社で開発を進めた方が上市後に得られる利益も大きくなるためだ。同社は開発費を一部負担することになるが、相当分の助成金を受領できると見込んでいる。なお、「AV-001」は2024年5月に米国FDAからFast Track※に指定されており、臨床試験に関する協議や審査などの手続きが迅速化される。

※ 重篤な疾患に対する新たな治療法やアンメット・メディカル・ニーズを満たす可能性のある薬剤等の開発を促進し、迅速に審査することを目的に制定された制度である。

■ 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

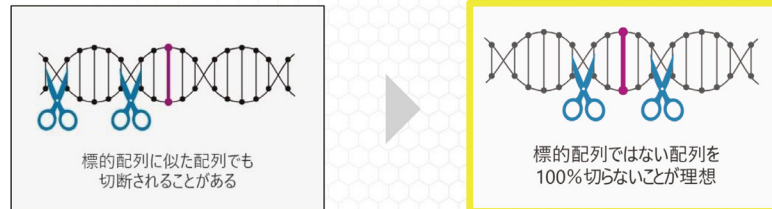
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、狙った遺伝子を改変する技術を指す。2012 年に従来より短時間で簡単に標的とする DNA 配列を切断できる CRISPR/Cas9（クリスパーキャスナイン）と呼ばれる革新的な技術が登場したことで、製薬業界においてもゲノム編集技術を用いて新薬の開発を行う動きが活発化した。米国 Vertex Pharmaceuticals Inc.<VRTX> とスイスの CRISPR Therapeutics<CRSP> が同技術を用いて共同開発した遺伝性血液疾患「鎌状赤血球貧血症※」を適応症とした治療法が、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。今回承認されたのは、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となっている。自社開発したヌクレアーゼのうち 250 超については特許を申請している。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する。

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

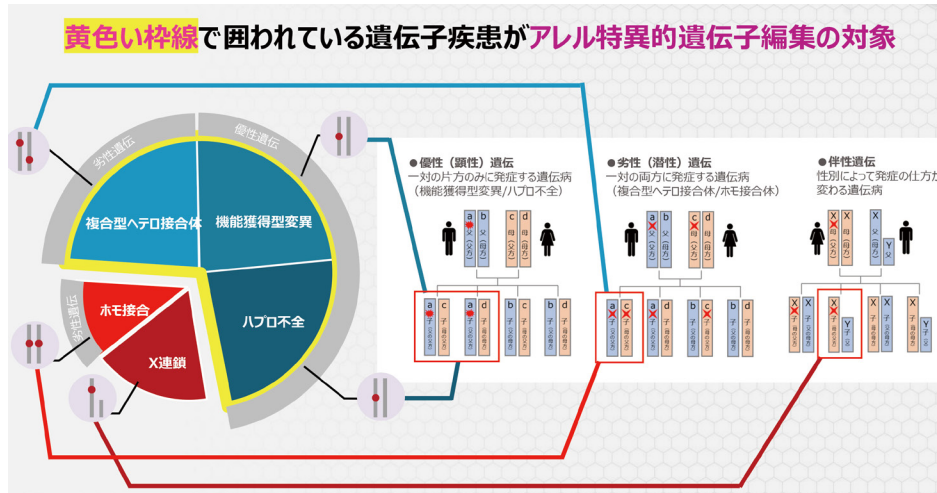
これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう
“オフターゲット効果”が懸念されていましたが、
Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果のない、
安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

出所：決算説明資料より掲載

また、もう一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に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、このうち約 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：決算説明資料より掲載

米スタンフォード大学とゲノム編集技術を用いた新規がん治療法の共同研究を開始

2. 事業戦略

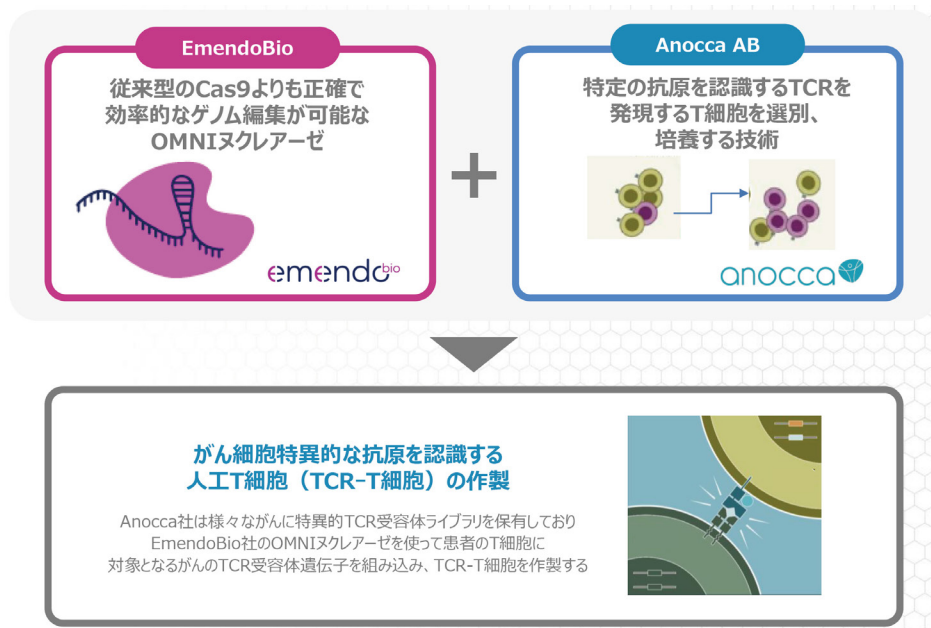
Emendo は 2023 年まで独自の OMNI ヌクレアーゼの開発にあたり、その探索と最適化を労働集約的に行ってきた。しかし、現在はこれまで蓄積した大量のデータベースとコンピューティング技術を活用した知識集約型の研究開発体制に移行しており、ピーク時に 100 人超まで増員したイスラエルの研究所の人員もスリム化した（一部はパレスチナ紛争で徴兵されたケースもある）。ゲノム編集技術に関する研究者と IT エンジニアで現在は 20 数名程度の体制となっており、今後も同水準を維持する予定だ。事業戦略としては財務状況を鑑み、これまで開発してきた 250 を超える OMNI ヌクレアーゼや OMNI プ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。

EmendoBio の開発状況

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 タンパク質の変異を標的とした開発を進める計画で、2025年内にも臨床試験入りする見込みである。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。こ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。

※ 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。

TCR-T 細胞による治療



出所：決算説明資料より掲載

EmendoBio の開発状況

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や、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など複数の企業と進めている。このうち 1 社は 2025 年内に契約締結する可能性が高くなっており、今後の動向が注目される。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。その一環として、2025 年 1 月には米国スタンフォード大学と、ゲノム編集技術を用いた新規がん治療法の開発に関する共同研究契約を締結した。遺伝性の難治性乳がん治療について OMNI ヌクレアーゼを用いた遺伝子治療の研究開発を進める。研究期間は約 2 年、研究費は約 130 万米ドルを予定する。スタンフォード大学が持つ細胞への薬剤送達技術と Emendo のゲノム編集技術を組み合わせることで、がん放射線療法やがん免疫療法の効率を大幅に高める治療法の開発が期待され、良好な研究成果を得ることができれば大手製薬企業とのライセンス契約に発展する可能性がある。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
(血液疾患)			
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
(眼疾患)			
緑内障	EMD-201	前臨床試験	コロンビア大学
網膜色素変性症	EMD-202	前臨床試験	単独
網膜色素変性症	EMD-203	リードの最適化	単独
(肝疾患)			
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	前臨床試験	単独

出所：Emendo ホームページよりフィスコ作成

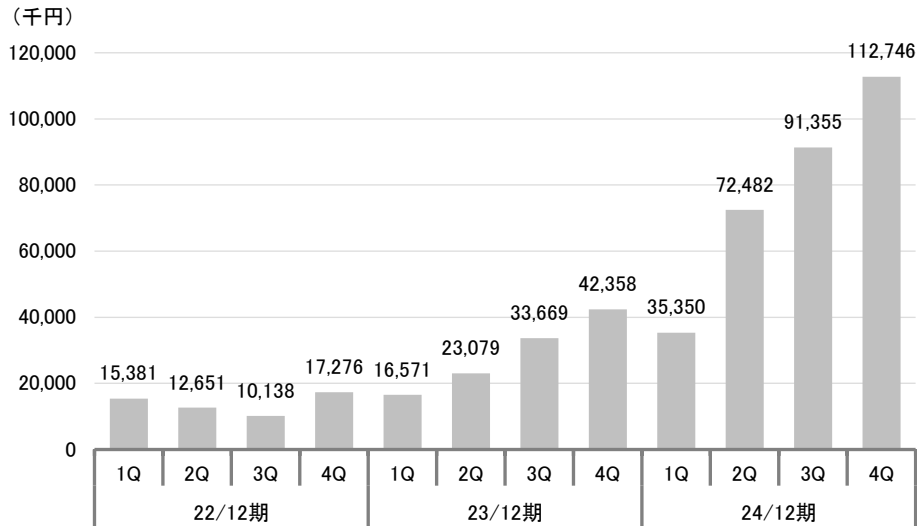
■ ACRL の取り組み状況

2 倍増ペースが続く拡大新生児スクリーニング検査は 2025 年に能力増強を計画

2021 年 7 月より ACRL で開始した希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査については、検査数が 2022 年 12 月期の約 1 万件、2023 年 12 月期の約 2 万件から 2024 年 12 月期は約 5 万件と 2 倍強の拡大ペースが続いた。CReARID からの検査受託に加えて、2024 年 8 月以降は群馬県や埼玉県、沖縄県などの自治体（またはその関連団体）からも受託を開始したことが増加要因となった。四半期ベースの手数料収入推移を見ても右肩上がり成長しており、2024 年 12 月期第 4 四半期は 112 百万円まで拡大した。通期では 2023 年 12 月期の 115 百万円から 311 百万円に増加し、売上総利益も 1 百万円から 84 百万円に拡大するなど収益増加に貢献した。

ACRLの取り組み状況

検査手数料収入



出所：決算短信よりフィスコ作成

国内の拡大新生児スクリーニング検査の対象疾患数は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り、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ことで検査数を伸ばしている。2025年1月からは新たに長野県（長野県立こども病院）から10疾患のスクリーニング検査の受託を開始しており、今後も他の自治体から受託するケースが増加することが予想される。2025年12月期は受託先の拡大と検査対象疾患の拡大により検査数は前期比2倍増の約10万件を見込んでいる。現在の検査所が手狭となってきたことから、2025年12月期には、移転拡張と検査装置の購入並びに増員を図ることにより検査能力を大幅に拡大する予定だ。投資額としては数億円程度を見込んでおり、減価償却費の増加等によって原価率も一時的に上昇することが予想される。

また、同社は検査領域拡大の取り組みとして、2024年7月より希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定診断）も開始したほか、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を行う体制も整備し、希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供できる体制を構築した。従来、これらの検査をすべて行う検査所はなく、医療機関では異なる検査所に依頼する必要があり手間が掛かっていたため、同社の検査所を活用することで利便性も向上する。同社にとっても、これら希少遺伝性疾患に関する検査を多く行うことで、新たな治療薬候補品を見出す機会が増えるものと考えており、今後も同事業については積極的に取り組む方針だ。

ACRL の取り組み状況

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

Emendo ののれん減損処理により 2024 年 12 月期の純損失は拡大

1. 2024 年 12 月期の業績概要

2024 年 12 月期の事業収益は 643 百万円（前期比 490 百万円増）、営業損失は 9,109 百万円（同 2,858 百万円減）、経常損失は 7,537 百万円（同 1,886 百万円増）、親会社株主に帰属する当期純損失は 28,128 百万円（同 20,691 百万円増）となった。

業績動向

2024年12月期連結業績

(単位：百万円)

	23/12期	24/12期		計画比 増減額	前期比 増減額	主な変動要因（カッコ内は前期比増減額）
	実績	会社計画	実績			
事業収益	152	600	643	43	490	「ゾキンヴィ」244百万円、 ACRL311百万円（196百万円増加）
売上原価	133	-	395	-	262	「ゾキンヴィ」商品売上原価160百万円、 ACRL原価227百万円（113百万円増加）
研究開発費	6,172	-	3,783	-	-2,389	Emendoの研究開発費の減少
販管費	5,814	-	5,573	-	-240	のれん償却額3,322百万円（241百万円増加）、 役員報酬（150百万円減少）、 支払手数料（137百万円減少）
営業利益	-11,967	-8,450	-9,109	-659	2,858	
経常利益	-5,651	-8,450	-7,537	912	-1,886	補助金収入（5,522百万円減少）、 為替差益（846百万円増加）
特別損益	-1,820	-	-20,105	-	-18,285	減損損失20,048百万円を計上
親会社株主に帰属する 当期純利益	-7,437	-8,650	-28,128	-19,478	-20,691	
期中平均為替レート (円/ドル)	140	142	151			

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期比196百万円増加の311百万円と順調に拡大したことに加え、HGPS及びPDPL※治療剤として2024年1月に製造販売承認を取得し、同年5月より販売開始した「ゾキンヴィ」で244百万円、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75百万円を計上したことが増収要因となった。2024年12月期に国内で販売終了した「コラテジェン」は同11百万円減の11百万円であった。

※ 乳児早老症とも言われるHGPS（ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群）はLMNA遺伝子の突然変異により発症し、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により、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（プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー）もLMNAやZMPSTE24遺伝子の変異により、同様の症状が生じ老化を促進する。「ゾキンヴィ」は、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臨床データがある。HGPS及びPDPLの世界における患者数は600人程度で、HGPSは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。患者1人当たりの年間売上高は薬価ベースで1億円強である。

売上原価は前期比262百万円増加の395百万円となった。「コラテジェン」の売上原価は前期に計上した在庫廃棄損がなくなったこともあり同11百万円減少したが、ACRLの売上原価が検査数の増加に伴い113百万円増加したほか、「ゾキンヴィ」の商品売上原価160百万円が増加要因となった。「ゾキンヴィ」の仕入れについては円建て決済のため、為替変動が収益に与える影響はない。売上総利益率は約34%であった。

研究開発費は前期比2,389百万円減少の3,783百万円となった。Emendoの事業構造改革に伴う人員の減少により人件費関連が1,152百万円減少したほか、「コラテジェン」の製造関連費用及びEmendoにおける製造費用等の減少により外注費が724百万円減少した。また、「ゾキンヴィ」の導入に関わる費用の減少により支払手数料が156百万円減少した。

業績動向

販管費は前期比 240 百万円減少の 5,573 百万円となった。主に Emendo の事業構造改革に伴う人員の減少により人件費関連が 244 百万円減少したほか、Emendo における弁護士やコンサルタント等への報酬減少により支払手数料が 137 百万円減少した。一方で、為替の円安進行により Emendo ののれん償却額が同 241 百万円増加の 3,322 百万円となった。

営業外収支は前期比 4,744 百万円悪化した。為替差益が 846 百万円増加した一方で、補助金収入が 5,522 百万円減少した。また、Emendo の事業構造改革を機に今後の事業計画を見直した結果、過去における超過収益力の評価に基づいて計上していた「のれん」を現状に基づく評価に改めるため、「のれん」及び有形固定資産を減損処理することを決定し、「のれん」の減損損失 19,936 百万円及び使用権資産の減損損失 111 百万円を特別損失として計上した。

2025 年 12 月期の営業損失は のれん償却負担がなくなり大幅縮小する見通し

2. 2025 年 12 月期の業績見通し

2025 年 12 月期の業績は事業収益で 1,350 百万円（前期比 706 百万円増）、営業損失で 5,800 百万円（同 3,309 百万円減）、経常損失で 5,820 百万円（同 1,717 百万円減）、親会社株主に帰属する当期純損失で 5,850 百万円（同 22,278 百万円減）を見込んでいる。

2025 年 12 月期連結業績見通し

（単位：百万円）

	24/12 期 実績	25/12 期	
		会社計画	前期比増減額
事業収益	643	1,350	706
営業利益	-9,109	-5,800	3,309
経常利益	-7,537	-5,820	1,717
親会社株主に帰属する当期純利益	-28,128	-5,850	22,278
為替レート（円 / 米ドル）	151	150	

出所：決算短信よりフィスコ作成

事業収益は、ACRL における手数料収入や早老症治療剤「ゾキンヴィ」の売上がそれぞれ約 2 倍に拡大する見込みである。事業費用に関しては、ACRL の売上拡大や能力増強、並びに「ゾキンヴィ」の商品仕入高の増加により、売上原価が増加するほか研究開発費で若干の増加を見込む。一方、販管費は Emendo に関するのれん償却額（前期 3,322 百万円）がなくなるほか、弁護士及びコンサルタントへの支払手数料の減少を見込んでおり、営業損失は大幅に縮小する見通した。営業外収支は前期に計上した為替差益がなくなることで、1,591 百万円の悪化を見込む。また、前期に計上した減損損失がなくなることで、親会社株主に帰属する当期純損失は大幅縮小する見通した。なお、為替想定レートは前期とほぼ同水準の 150 円 / 米ドル、163 円 / EUR としている。

のれんの減損処理により資産がスリム化

3. 財務状況について

2024年12月期末の財務状況は、資産合計が前期末比24,223百万円減少の4,668百万円となった。流動資産では、「ゾキンヴィ」の仕入れにより商品を224百万円計上した一方で、現金及び預金が2,452百万円減少したほか、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264百万円減少した。固定資産は、Emendoののれん21,746百万円がなくなったほか、Emendoの社屋に係るリース資産の減損により使用権資産が267百万円減少した。

負債合計は前期末比277百万円減少の2,512百万円となった。Emendoにおいて法人税等を計上した結果、未払法人税等が578百万円増加した一方で、前期の費用の支払いにより買掛金が118百万円、未払金が167百万円減少し、Emendoの事業構造改革費用の支払い等により事業構造改革引当金が391百万円減少した。

純資産合計は同23,946百万円減少の2,156百万円となった。新株予約権の行使や無担保転換社債型新株予約権付社債の発行等により、資本金が2,201百万円、資本剰余金が2,078百万円それぞれ増加した一方で、親会社株主に帰属する当期純損失の計上により利益剰余金が28,128百万円減少した。

2024年12月期末の現金及び預金の残高が約17億円まで減少しているが、今後の事業活動資金については2024年9月に発行した第三者割当による第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）の行使により賄う方針だ。期末の未行使分9,970万株のうち2025年1月～2月に4,068万株分が行使され、1,956百万円を調達した。残りの未行使分（5,901万株）が平均55円ですべて行使されたとすると約32億円を調達できることになり、2025年12月期の事業活動費用分は賄える計算である。2026年12月期以降は、HGF遺伝子治療用製品の販売パートナー契約や上市時期、OMNIヌクレアーゼに関するライセンス契約の動向等によって変わってくるが、これらに大きな進捗が見られないようであれば、引き続き新株予約権を発行し、事業活動資金を調達することになりそうだ。

なお、第45回新株予約権の行使による調達資金の具体的使途としては、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-κBデコイオリゴDNA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する。

業績動向

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	21/12 期末	22/12 期末	23/12 期末	24/12 期末	前期末比
流動資産	21,426	12,896	5,921	3,542	-2,378
（現金及び預金）	17,899	11,035	4,160	1,707	-2,452
固定資産	24,029	25,924	22,971	1,125	-21,845
（のれん）	22,675	23,254	21,746	-	-21,746
資産合計	45,455	38,820	28,892	4,668	-24,223
負債合計	6,821	8,395	2,789	2,512	-277
（前受金）	5,119	5,764	637	639	1
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産合計	38,634	30,425	26,103	2,156	-23,946
< 経営指標 >					
自己資本比率	84.8%	78.1%	90.0%	44.0%	-46.1pp
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

キャッシュ・フローの状況

(単位：百万円)

	21/12 期	22/12 期	23/12 期	24/12 期
営業活動によるキャッシュ・フロー	-11,380	-11,214	-8,745	-6,612
投資活動によるキャッシュ・フロー	-154	-97	-356	-130
財務活動によるキャッシュ・フロー	17,378	3,572	2,036	4,202
（株式発行収入※）	17,280	3,521	2,033	3,008
現金及び現金同等物の期末残高	17,835	10,969	4,092	1,627

※ 新株予約権行使に伴う株式発行収入

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)	支出時期
HGF 遺伝子治療用製品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-κB デコイオリゴ DNA 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：同社 IR ニュースよりフィスコ作成

■ 今後の成長戦略

希少遺伝性疾患等を対象に開発。 遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は企業理念として、「生命が長い時間をかけて獲得した遺伝子の力を借りて画期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だ。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販売パートナー契約が決まり、上市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、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- κ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験の結果は、2027 年前半にも判明する見込みであり、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 2025 年 12 月期以降も拡大が見込まれ、新たな開発パイプラインの探索にもつながる取り組みとして期待される。Emendo については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。

同社は、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) HGF 遺伝子治療用製品の製品価値最大化、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って、収益成長と企業価値向上を目指す方針だ。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して」という同社の長期ビジョンも実現の可能性が高まるだけに、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