

23rd AnGes REPORT

第23期 アンジェス通信 2021.1.1-2021.12.31

遺伝子医薬の
グローバルリーダーを目指して

遺伝子医薬品開発でグローバルに貢献できる
企業を目指してまいります

代表取締役社長 山田英



アンジェスは、遺伝子医薬技術を活用し、
革新的な医薬品開発に取り組むバイオ製薬企業として日々努力を重ねております。

新型コロナウイルス感染症により影響を受けられた方々に心よりお見舞い申し上げますとともに、人命救助のために懸命に働いてくださっている医療従事者の皆様や、社会インフラを支えてくださっている方々へ、心から感謝と敬意を表したいと存じます。

この状況に対して、当社といたしましては、引き続きワクチン開発および治療薬の開発で社会に貢献できるよう努力を続けてまいります所存でございます。

当社は、1999年12月に、HGF(肝細胞増殖因子)遺伝子の血管を新生する作用を応用した医薬品開発を目指して、アンジェス(AnGes)として創業しました。

血管新生という治療の概念はそのころはまだ「これまでにない」治療法でした。そして様々な挑戦と苦労を経て、20年という歳月をかけて2019年9月、世界初となる血管を新生する遺伝子治療用製品、そして世界初となるプラスミドDNA技術を用いた遺伝子治療用製品として、承認・薬価収載を経て販売に至りました。

創業時より開発を続けているHGF遺伝子治療用製品については、2019年の条件及び期限付き承認から本承認に向けた市販後調

査が着実に進んでおります。適応拡大や、導出活動も積極的に進んでまいります。

我々に与えられた課題は、長い間目指してきた難病や稀少疾患の治療薬の実現です。世界では創薬の領域においてもAIの技術やヘルスケアのDX(デジタルトランスフォーメーション)が導入され、以前にもましてその開発の思考が広がり、それに要する時間は短縮される可能性があります。それでも現実の難病や稀少疾患は世界中で数千疾患といわれています。

我々は、これからも「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指し、当社の遺伝子医薬の技術を駆使し、新薬を望んでおられる患者さんやそのご家族、ステークホルダーの皆様、社会一般の方々のご期待に応えるべく前進してまいりたいと考えております。

日頃のご愛顧に厚く御礼申し上げますとともに、今後とも変わらぬご支援を賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。



臨床開発ステージにあるプロジェクトの状況

条件及び期限付き承認制度

プロジェクト(一般名)	地域	導出先	開発コード 剤形	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験(治験)			承認・審査	条件・期限 付き承認	販売	市販後 調査	本承認
							第I相	第II相	第III相					
HGF遺伝子治療用製品 (ペベルミノゲンペルプラスミド)	日本	田辺三菱 製薬	AMG0001 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	販売中	実施中		

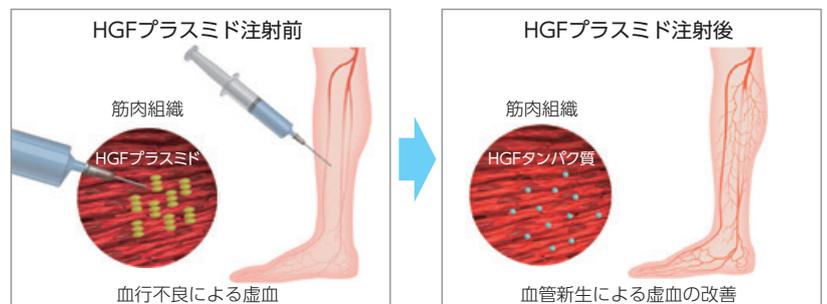
通常の承認制度

プロジェクト	地域	導出先	開発コード 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 (ペベルミノゲンペルプラスミド)	日本	田辺三菱 製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	完了	完了	完了	完了	実施中		
	米国	田辺三菱 製薬	AMG0001 注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	後期 実施中			
	イスラエル	Kamada		慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	完了	完了	申請 準備中	
	トルコ	Er-Kim		慢性動脈閉塞症 潰瘍	完了	完了	完了	完了	完了	申請 準備中	
NF-κBデコイオリゴ DNA	米国	-	AMG0103 注射剤	腰痛症	完了	完了	完了	準備中			
DNAワクチン	オーストラリア	-	AGMG0201 注射剤	高血圧	完了	完了	完了	完了			
DNAワクチン	国内外	-		新型コロナ ウイルス感染症 (COVID-19)	完了	完了	完了	実施中			
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune		COVID-19 および 急性呼吸窮迫症候群	完了	完了	完了	前期 実施中			

*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、エボラ出血熱抗血清製剤があります。

HGF遺伝子治療用製品

HGF遺伝子治療用製品は、血管が詰まり血流が悪くなっている虚血性疾患に対し「血管を新生する」というこれまでにない作用を有する治療薬になる可能性があります。2019年に条件及び期限付き承認を取得した、慢性動脈閉塞症を適応症とするHGF遺伝子治療用製品「コラテジェン®」は、市販後調査*で着実にデータを集積しており、本承認に向けて確実に歩を進めております。また、米国での後期第II相臨床試験や国内での安静時疼痛の適応拡大を目的とした試験も進捗しております。



*市販後調査 (PMS) とは、販売が開始された医薬品の有効性・安全性の確認と、販売前の治験で得られなかった新たな作用・副作用に関する情報収集のために行われる調査

進捗

- 国内** 慢性動脈閉塞症潰瘍を対象とした市販後調査: 目標症例数120例での登録を完了いたしました。
- 国内** 慢性動脈閉塞症安静時疼痛を対象とした第III相臨床試験: 目標症例数40例での投与が完了いたしました。
- 米国** 閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第II相臨床試験: 目標症例数60例に対して、患者登録および投与を実施中です。

慢性椎間板性腰痛症治療用 NF-κB デコイオリゴ DNA

慢性椎間板性腰痛症の治療用の核酸医薬品である NF-κB デコイオリゴ DNAは、NF-κB転写因子に結合して炎症性サイトカイン(細胞から分泌される生理活性物質)の放出を抑制する合成 NF-κB オリゴヌクレオチドデコイであり、過剰な炎症反応や免疫反応に起因する様々な疾患の治療に有効な薬剤として期待されています。米国 FDA が慢性椎間板性腰痛症に対する薬物療法として承認しているのは、消炎鎮痛剤による対症療法のみです。NF-κB デコイオリゴ DNAは、推定される原因物質を阻害することで効果を発揮する点で、既存の鎮痛剤とは異なります。基礎科学的研究の結果、NF-κB デコイオリゴ DNAの局所注射は、既存の治療薬では改善できない椎間板変性症などの病気の進行を抑える効果があることが示唆されています。

進捗

- 米国** 後期第I相臨床試験で12ヶ月後の経過観察からも安全性と有効性の良好なデータが得られました。現在、次の臨床試験の準備を進めております。

新型コロナウイルス感染症関連

DNAワクチン

当社が大阪大学と共同開発を進めている新型コロナウイルス感染症向けDNAワクチンは、SARS-CoV-2ウイルスの感染の足掛かりとなるタンパク質である、スパイクをコードするプラスミドDNAワクチンであり、感染の予防あるいは重症化の予防を目的に開発を進めております。

進捗

国内 新型コロナDNAワクチン:2020年6月より第I/II相および第II/III相臨床試験では、安全性において問題はなく、細胞性免疫においてある程度の上昇を確認したものの、液性免疫については期待する効果を得ることができず、今後さらに有効性を高める必要があることを確認いたしました。さらに有効性を高めるための取り組みとして、高用量製剤での第I/II相試験を、接種方法を筋肉注射と皮内投与との2種類とし、プラセボ(偽薬)なしの実薬のみで、目標症例数400例にて実施し、2021年11月に目標症例の接種を完了しております。

治療薬 AV-001

AV-001は、トロントのサニーブルック病院で発見・デザインされたものであり、当社とバソミュン社が共同開発を進めています。AV-001は、血管内皮細胞表面に最も多く発現する膜貫通型タンパク質であるTie2受容体を標的とした新規治療薬です。AV-001は内皮細胞のタイトジャンクションを狭め、血管バリア機能を回復させ、血管透過性亢進をブロックすることで、血管機能を正常化させることが示されており、重度の新型コロナウイルス感染症およびARDS(急性呼吸窮迫症候群)の治療薬として開発されています。



進捗

米国 重度の新型コロナウイルス感染症入院患者に対して、二重盲検、標準医療を行うプラセボとの比較対照とした前期第II相臨床試験を、2022年1月より開始いたしました。

高血圧DNAワクチン

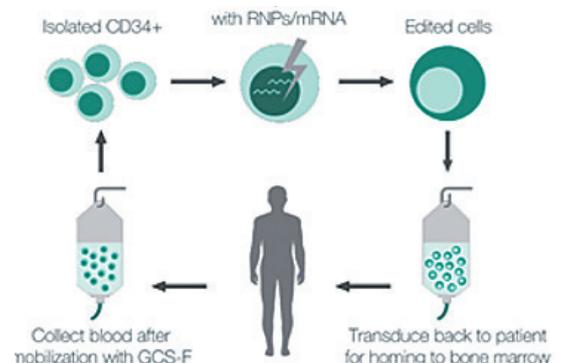
高血圧DNAワクチンは、血圧上昇作用を持つ体内物質である「アンジオテンシンII」に対する抗体(免疫作用により標的の物質に結合する分子)を体内で作出し、その働きを抑えることで高血圧を治療することを目的に開発を進めています。

進捗

オーストラリア 高血圧DNAワクチン:第I/前期第II相臨床試験において、試験結果の評価を行い、重篤な有害事象はなく、安全性に問題がないこと、また、アンジオテンシンIIに対する抗体産生を認めました。安全性、免疫原性および有効性を評価する試験を継続的に行い、今後の臨床試験のデザインについて検討を行ってまいります。

ゲノム編集技術

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を持つEmendo社を子会社化いたしました。Emendo社のゲノム編集技術は、高い効率と精度を両立したゲノム編集を可能にする画期的かつ実用的な独自技術です。具体的には、Emendo社の患者の治療として安全に使うことのできる新たなゲノム編集ツールを作出する技術(OMNI Platform)を活用し、ELANE(好中球エラストラーゼ遺伝子)関連重症先天性好中球減少症を対象疾患とした開発品について、米国FDAに対して治験届を提出する準備を進めております。



アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(旧衛生検査所)

当社は、2021年4月に希少遺伝性疾患検査を主目的としたアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(旧衛生検査所)を開設いたしました。無償で提供される「新生児マススクリーニング」の対象疾患以外の疾患でも、希望者を対象に有償検査を提供する「オプションスクリーニング」事業を展開しています。急速に進歩する希少遺伝性疾患の治療の開発と並行して、その診断に必要な検査の実施および検査技術の開発を通して、治療法の発展に貢献したいと考えています。

株主様向け特設 サイトのご案内

インターネットによる株主総会や会社説明会のご視聴や、議決権行使について、わかりやすくおまとめした、株主様向け特設サイトをご用意しております。インターネットでの議決権行使のお手続きや、株主総会、会社説明会のスケジュールおよびご視聴方法をまとめて掲載しております。是非ご活用ください。

特設サイトURL：<https://www.anges.co.jp/ir/202203session.php>

スマートフォンでのQRコードの読み取り方法

スマートフォンの“カメラ”を起動して、QRコードを読み込み、インターネットで開くことができます。

特設サイト QRコード



QRコードは、
(株)デンソーウェーブ
の登録商標です。

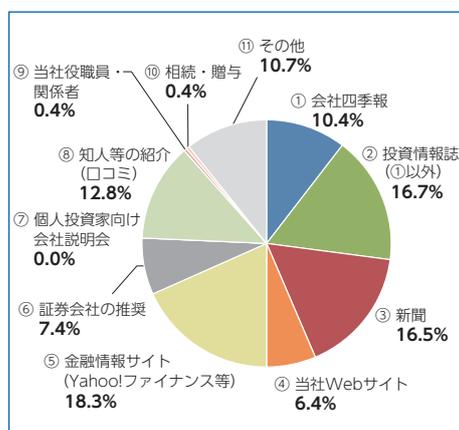
決算内容に関しては、招集ご通知をご覧ください。

株主様向けアンケート実施結果

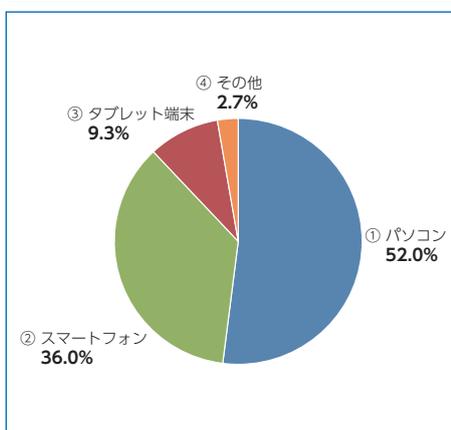
2021年9月に株主様向けにアンケートを実施いたしました。ご協力いただいた皆様、ありがとうございます。はがき*およびウェブサイトにて、6,645名の方にご回答いただきました。

*アンケートはがきは、2021年6月末時点で、5単元以上保有の株主様にお送りいたしました

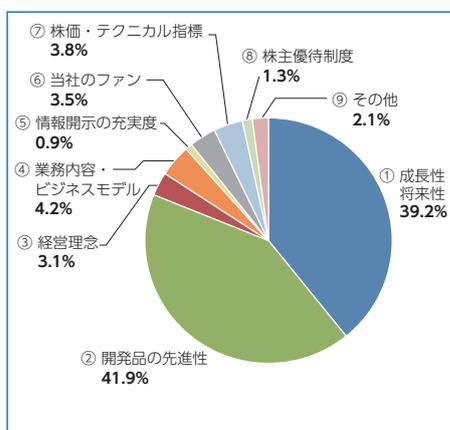
Q1. 株式を購入・取得のきっかけ



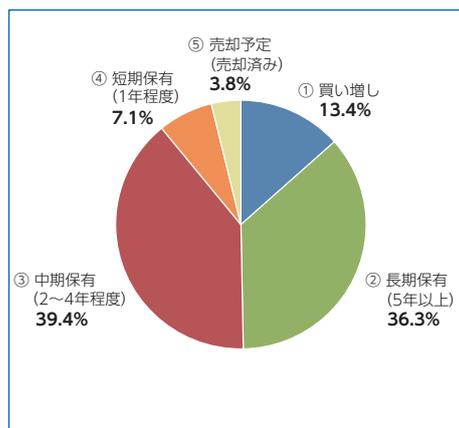
Q2. 当社の情報を収集する場合に使用するデバイス



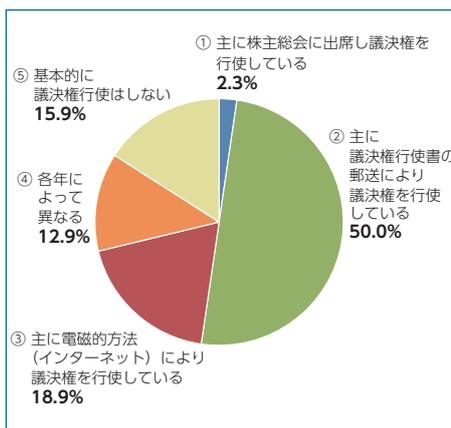
Q3. 株式購入の際、重視したこと



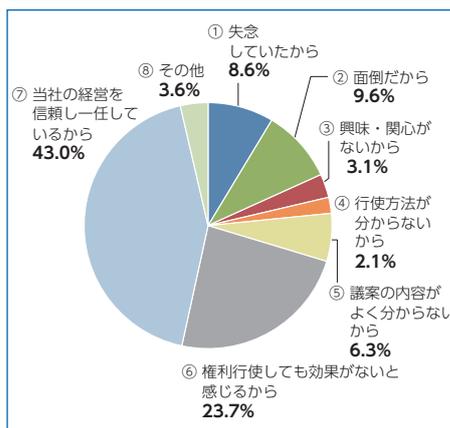
Q4. 今後の保有方針



Q5. 株主総会における議決権行使についてのお考え



Q6. 議決権行使をしない理由



Q7. その他当社へのご意見・ご要望 (自由記述)

- 長期保有するつもりだが、株価対策を含めた情報発信をして、株主目線に立った経営をしてほしい。
- 新型コロナワクチン・治療薬共にもっと情報を提供してほしい。
- コラジェンの開発に期待しています。
- ブログ、IRなどももっと発信してほしい。
- 黒字化に転換する見通しは、いつ頃を予定しているのでしょうか。
- バイオ製薬企業として発展して欲しい。

など

詳細は当社ホームページのブログでも
ご覧いただけます。

いただきました多くのご意見、ご要望にお応えするべく努力してまいります。