

遺伝子の力を活用しすべての人に治療の機会を



AnGes Company Guide





Business Overview

アンジェスは、遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、革新的な医薬品の開発に取り組むバイオ製薬企業です。

当社が開発する遺伝子医薬とは、遺伝子の働きを利用した新しいタイプのバイオ医薬品で、一般に核酸医薬品、遺伝子医薬品と呼ばれています。

当社は、国内外のアカデミア、製薬企業やバイオベンチャーと積極的に協業し、新たな遺伝子医薬の開発に取り組んでいます。また、世界では、新たな医薬品、治療方法などが次々に開発されており、現在はゲノム編集による治療法の開発が最先端となっており、子会社のEmendoBioでは、独自のヌクレアーゼによる高精度なゲノム編集技術を開発しています。

更に当社は、ドラッグ・ロス、ドラッグ・ラグにより治療薬を待ち望んでいる患者の方の期待に応えるべく、海外で販売されている希少疾患治療薬の国内への導入にも取り組んでいます。

これら医薬品の開発、導入に加え、希少遺伝性疾患の早期発見、早期治療を実現するための検査事業も行っています。

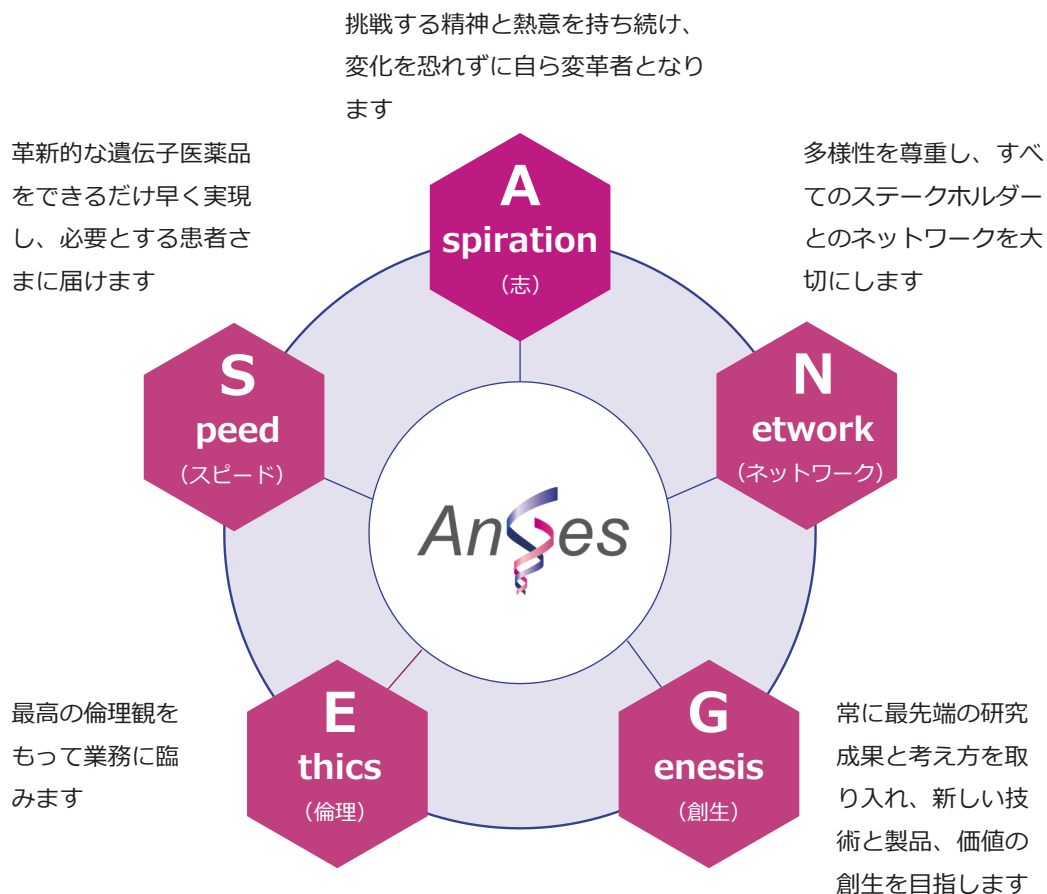


Corporate Philosophy

ミッション 遺伝子の力を活用し、すべての人に治療の機会を届けます

ビジョン 遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、未だ有効な治療法が存在しない疾患に革新をもたらし、世界中の人々のQOL（生活の質）向上に貢献します

バリュー



社名の由来 社名の「AnGes」は、フランス語で天使を意味する「Ange」に由来し、さらに血管新生（Angiogenesis）や遺伝子制御（Anti-gene）といった医薬品開発に関連する意味も含まれています。

Top Message

「遺伝子医薬のグローバルリーダーとして」

長寿国日本は皆保険制度によって誰もが医療を受けられる世界唯一のモデルを樹立してきました。我が国の医薬品市場は、一時期世界市場の20%を占めていたものの、現在は6%まで低下するに至りました。この低下の一因は、まさに創薬力の低下にあります。また、米国では、売上高トップ10医薬品の8割がバイオベンチャーの発明・発見に由来しており、バイオベンチャーが世界の創薬に大きく貢献しています。日本においてもまさに創薬力の向上が求められています。

一方、1984年に日本において肝臓の細胞を増やす因子としてHGF（肝細胞増殖因子）は発見されました。前職でHGFを肝細胞再生の観点から遺伝子をクローニングして研究開発に従事していた私は、「この発見は世界中に希望をもたらす発見になる」と感じたことを覚えています。そして、このHGFを医薬品として製品化しようと創業したアンジェスへの参加は、私にとって幸運であり自然だったのかもしれません。

アンジェスの企業理念としてのミッションは、「遺伝子の力を活用し、すべての人に治療の機会を届けます」というもので、その目指すべき姿である当社のビジョンは、「遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、希少疾患や難病に苦しむ人々に革新的な治療を届け、世界中の患者のQOL（生活の質）を向上させる企業へ」というものです。当社が企業理念の実現に向けて歩みを進めることで、我が国の創薬力向上の一助になることを願っています。

当社はプラスミドDNAを用いたHGF 遺伝子治療用製品や、核酸医薬NF- κ Bデコイオリゴなどの遺伝子の働きを利用した遺伝子医薬の開発に加え、希少遺伝性疾患検査の受託や最先端技術であるゲノム編集技術を用いた治療方法の研究開発など、世界最先端のアイデアやモダリティを駆使し、企業理念の実現に向け、新薬の創生、希少疾患の治療に挑戦しています。そのために、日本だけでなく広く世界中を舞台に、国際的研究開発を推進してまいります。さらに、革新的新薬創製の加速によって高い付加価値を有する製薬産業と新しいエコシステムが日本を中心に世界中を循環するような土台の構築を主導してまいります。

当社の真の目標は、他に有効な治療法がなく、治療薬を待ち望んでおられる患者さまに世界に一つしかないオンリーワンの治療薬をお届けすることです。この目標に向け、経験豊富なスタッフと、様々な外部の方々の協力を得て、少数精鋭による大きな成果を上げるべく世界を舞台に事業を進めてまいります。

これからも新たな治療薬を待つ多くの方々のご期待に応えるべく努力してまいります。

代表取締役社長 山田 英

Business Fields

開発品

これまで治療薬がない、あるいは治療が難しい疾患に対して遺伝子医薬など新しいモダリティの医薬品を開発しています。

■ アンジェス パイプライン

地域	提携先	適応症	基礎研究	非臨床試験	第Ⅰ相	臨床試験（治験）			承認審査	承認
HGF遺伝子治療用製品（ベベルミノゲンペルプラスミド）										
日本	—	慢性動脈閉塞症	完了							
米国	—	包括的高度慢性 下肢虚血	完了 良好な結果 準備中 ブレイクスルー・セラピーに指定							
NF-κBデコイオリゴDNA										
日本	—	慢性椎間板性 腰痛症	実施中							
DNA ワクチン										
オーストラリア	—	高血圧	完了							
Tie2受容体アゴニスト										
米国	Vasomune (共同開発先)	急性呼吸 窮迫症候群	前期実施中							

■ EmendoBio 社 パイプライン

PROGRAM	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE1-3
HEMATOLOGY				
EMD-101 Severe Congenital Neutropenia				
CARDIOVASCULAR				
EMD-301 Familial Hypercholesterolemia				
EMD-302 Hyperlipidemia				
OPHTHALMOLOGY				
EMD-201 Retinitis Pigmentosa				
EMD-202 Cone-Rod Dystrophy				
EMD-203 Macular Dystrophy				

CLTの下肢切断後の1年死亡率

約 **20** %

全世界のCLTI罹患数

200 万人

■ 対象疾患

下肢潰瘍を有する軽度から中等度の包括的高度慢性下肢虚血（Chronic Limb Threatening Ischemia ; CLTI）

CLTIとは、下肢の動脈が狭窄または閉塞し、酸素や栄養が不足する重度の虚血状態を引き起こす病態です。

■ 現在の治療法と問題点

現在、実施されている治療方法は、カテーテル治療やバイパス手術などですが、虚血状態が継続すると下肢の潰瘍や壊疽が起こり、症状が進行すると下肢の切断や、最終的には生命に関わる可能性があります。

CLTIは血行再建を行わなければ全世界で20秒ごとに下肢切断が行われ、さらに1年死亡率も約20%といわれ、ステージⅢの胃がんの1年後の死亡率に近い疾患です。

■ 作用機序

HGF（肝細胞増殖因子）による血管再生機能を活用

肝臓の細胞の増殖を促進するタンパク質であるHGFは、肝臓の再生や組織の修復に関わっています。またHGFは、肝臓の再生以外でも血管の再生にも関与していることが知られています。HGF遺伝子治療用製品は、このHGFを産生する遺伝子をプラスミドDNAに組み込み、動脈の狭窄、閉塞した部位にHGF 遺伝子治療用製品を注射することで該当部位に血管を新生し、血流を改善し、症状を軽減します。

■ CLTI の患者数

全世界で末梢動脈疾患（Lower extremity artery disease ; LEAD）患者は増加しており、約2億人が罹患していると試算されています。これらのLEAD患者の中で安静時痛、虚血性潰瘍などを併発する包括



的高度慢性下肢虚血（CLTI）患者は約11%と試算されています。

米国における患者数は200万人と推定されます。

■アンジェスの取り組み

HGFに血管を新生する能力があることが1995年に発見され、1999年の創業時から当社ではHGFを利用した治療薬の開発に取り組んできました。

日本国内においては、遺伝子治療という新しいモダリティであることから、重度な重症下肢虚血への適応を目指した開発を実施し、2019年に世界で初めてプラスミドDNAを使用したHGF遺伝子治療用製品として条件及び期限付き承認を取得しました。

一方、米国においては、臨床試験の主導医師などの助言に基づき、軽度から中等度のCLTIを対象とし、より早い段階で重症化を防止する臨床試験（第Ⅱ相臨床試験）を2020年から実施しました。2024年6月には米国での臨床試験の結果が非常に好結果であることがわかりました。この結果を受け、同年6月に日本国内における製品開発、販売方針を再検討することといたしました。米国においては、臨床試験の好結果から同年9月にFDAによるブレイクスルー・セラピー（画期的新薬）の指定を受けました。

これらの状況から、米国での製品化を最優先とし、最短での製造販売承認を目指し米国での開発に注力しています。FDAとの協議の下、臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請（BLA申請）に向けた準備を進めており、FDAとのType B Clinical Meetingも実施し、臨床に関する申請方針についてFDAと合意を得ることができました。

承認された後の供給面でも、バーリンガー・インゲルハイム・バイオフーマシューティカルズ社と原薬の供給に関する契約を締結しています。

当社は、血管内治療や、バイパス手術などを行わずに血行を改善し、下肢切断や生命の危険を回避するための治療法としてHGF遺伝子治療用製品の実用化を目指しています。



■対象疾患

慢性椎間板性腰痛症

椎間板性腰痛は、椎間板を損傷したり、変性したりすることで起こる慢性（3ヶ月以上継続する）腰痛症です。45歳までの年齢層で多く起こり、慢性腰痛の中でも40%が椎間板性腰痛とされています。

正常な椎間板にはほとんど神経が通っていないため、椎間板そのものが傷ついてもそれほど痛みは感じませんが、椎間板の外側の線維輪が損傷すると、その修復のために神経を伴った血管が線維輪の内側に入り込み、本来痛みを感じないはずの椎間板内部にも神経が分布して、椎間板への負荷で痛みを感じるようになります。

また、椎間板に対する過度の負荷などにより線維輪が損傷すると、種々の炎症性物質が産出されると報告されています。動物実験の椎間板障害モデルでは、椎間板髄核、線維輪細胞より様々なサイトカイン・神経栄養因子が放出されていることが報告されています。また、手術時に採取したヒト病的椎間板でもこれらのサイトカイン・神経栄養因子の発現が報告されています。

■現在の治療法と問題点

現状、根本的な治療法は存在していません。薬物療法や運動療法、IDET治療といった対症療法で治療しています。

◎薬物療法

腰痛や炎症による痛み・腫れがあるときには非ステロイド性抗炎症薬と呼ばれる解熱鎮痛薬が使われます。

◎運動療法

薬物治療によって痛みが治った後に医師や理学療法士によるリハビリや運動療法をすることで回復を早めることができます。

◎IDET治療

レントゲンを用いて椎間板の中に針を通してから針先に熱を加え、椎間板中に存在する神経を麻痺させて痛みを感じにくくします。また、椎間板の膠原繊維が硬化して椎間板が安定化することで痛みを起きにくくします。



■作用機序

NF-κBは、転写因子として働くタンパク質複合体で、通常は細胞質に存在するIκBαタンパク質と結合し、不活化されています。細胞が刺激されるとIκB kinase (IKK) 複合体が活性化され、阻害タンパク質 (IκBα) をリン酸化します。その結果、IκBαが分解され、NF-κBが遊離し、IκBαによって阻害されていた核移行シグナル伝達部位が露出し、NF-κBが核に移行して活性化されます。核に移行したNF-κBは標的とする遺伝子 (GGGACTTTCC またはそれに類似の DNA配列) に結合し、その発現を誘導します。細胞は増殖したり分化したりして炎症や免疫反応などの生体反応を引き起こします。

慢性椎間板性腰痛症において、椎間板の損傷、変性によりサイトカインが放出され、その結果、NF-κBが活性化されることで過剰な免疫、炎症反応が起こると考え、NF-κBのDNAへの結合を妨げるNF-κBデコイオリゴDNA (デコイオリゴ核酸) を投与することで、NF-κB の働きを抑制します。

これまでの薬物療法などによる対症療法では、その効果が短期間で失われていましたが、NF-κBデコイオリゴDNAの投与により、75%以上の患者が1年後まで痛みの改善を確認しており、椎間板の高さの改善も見られています。(米国後期第 I 相臨床試験より)

■慢性椎間板性腰痛症の患者数

2023年に実施された日本腰痛学会の全国調査では、慢性腰痛 (3か月以上続く腰痛) の割合は、約11.5%と報告されています。慢性腰痛患者の中で、椎間板が主な痛みの原因とされる割合は、研究によって異なりますが、約55%と報告されています。慢性椎間板性腰痛症の患者数は、慢性腰痛の割合 (11.5%) と椎間板性腰痛の割合 (55%) を掛け合わせることで、全人口の約6.3%に相当すると推定されます。日本の総人口 (約1億2,500万人) を考慮すると、約787万人が慢性椎間板性腰痛症を抱えている可能性があります。

■アンジェスの取り組み

当社はNF-κBデコイオリゴDNAの研究開発に2002年から取り組んでおり、NF-κBの活性化が原因と推定される様々な疾患や症状に対し、治療薬としての可能性を検討してきました。2018年に米国において椎間板性腰痛症の治療薬として第 I 相臨床試験を実施するに至りました。2021年には臨床試験の結果、患者の忍容性が高く、重篤な有害事象も認められず、安全性が確認されました。

また、NF-κBデコイオリゴDNAを1回投与することで、早期から痛みが改善し1年後では投与前に比べてプラセボ (偽薬) 群では平均40.3% (中央値32.8%) しか痛みのスコアが軽減しなかったのに対し、本薬10mg群では平均77.4% (中央値97.5%) 軽減することが分かりました。細かく見てみると、半数の患者の痛みがほぼ完全に消失しました。

また、腰椎と腰椎の間にある椎間板の高さが、投与前に比べて増加していることから、傷んだ椎間板の改善が示唆されます。このような有効な結果は、他の治療薬では報告されていません。

その後、2023年から日本国内において第 II 相臨床試験を実施するとともに、塩野義製薬と国内臨床試験に関する協力について契約を締結しました。

DNAワクチン

■対象疾患

高血圧

血圧とは、血液が動脈を流れる際に血管の内側にかかる圧力のことで、血圧の上と呼ばれる数値は心臓が収縮して血液を送り出したときの「収縮期血圧（最高血圧）」のことで、血圧の下と呼ばれる数値は心臓が拡張したときの「拡張期血圧（最低血圧）」のことで、収縮期血圧（血圧の上）が140mmHg以上、拡張期血圧（血圧の下）が90mmHg以上のとき、高血圧と診断されます。

血圧を上昇させる原因は様々ありますが、その一つは血管の収縮による血圧上昇であり、血管を収縮させる物質として、アンジオテンシンⅡという物質があります。アンジオテンシンⅡは体内で作られるホルモンの一種で、腎臓に作用し、循環血漿量を増加させるアルドステロンというホルモンの分泌も促すことで血圧を上昇させます。

■現在の治療法と問題点

現在、高血圧の治療薬は、カルシウム拮抗薬、アンジオテンシンⅡ受容体拮抗薬（ARB）、アンジオテンシン変換酵素阻害薬（ACE 阻害薬）、利尿薬、β遮断薬のような薬があり、基本的に毎日服用する必要があります。

これら薬により血管を広げる、あるいは血圧をあげる物質の作用を抑えることで高血圧症を改善する治療法では、薬を一度飲み始めると生涯飲み続けることも珍しくありません。血圧が良好な範囲で安定している期間が長く続く場合には、治療薬の服用を中止できる可能性があります。服用を中止すると血圧が再び上昇することもあります。

■作用機序

プラスミドに、アンジオテンシンⅡの一部と同じ配列のたんぱく質を作る遺伝子を組み込み、DNA ワクチンとして投与します。通常、体内ではアンジオテンシンⅡの抗体は作られませんが、DNAワクチンによりアンジオテンシンⅡの配列を短くした疑似ウイルスが作られることによって、免疫システムが抗原だと認識し、抗体を作ります。その後、アンジオテンシンⅡが

産生された際、この抗体により、アンジオテンシンⅡの働きを阻害し、血圧の上昇を防ぎます。

■アンジェスの取り組み

HGF 遺伝子治療用製品で培ったプラスミドを使用した遺伝子医薬のノウハウを活用し、2016年から高血圧治療のためのDNAワクチンの研究開発を始めました。2017年にはオーストラリアで臨床試験の届け出を提出し、2018年には症例の登録を開始しました。2021年には臨床試験の結果、重篤な有害事象はなく、安全性に問題がないこと及びアンジオテンシンⅡに対する抗体産生が確認されました。

当社はDNA ワクチンを用いて、従来の治療薬で必要とされていた毎日の服用を不要とする、新しい治療薬の開発を目指しています。



Tie2受容体アゴニスト（AV-001）－共同開発品－

■対象疾患

急性呼吸窮迫症候群(ARDS)

急性呼吸窮迫症候群（ARDS）とは、先行する基礎疾患・外傷をもち急性に発症した低酸素血症で、胸部X線写真上では両側性の肺浸潤影を認め、かつその原因が心不全、腎不全、血管内水分過剰のみでは説明できない病態の総称です。通常の酸素投与のみでは改善しない高度な低酸素血症を特徴とします。敗血症、肺炎、誤嚥、溺水、熱傷、外傷、急性脾炎など、さまざまな基礎疾患に続発する重症の急性呼吸不全で、肺への直接的または間接的な侵襲によって1週間以内に発症します。ARDSでは、血管内皮と肺胞上皮の細胞損傷を伴う肺の激しい炎症が生じ、肺微小血管内皮及び肺胞上皮の透過性亢進が起こります。

その結果、血管・気管支周囲の間質内に水分が漏出・貯留し、間質性肺水腫の状態になります。さらに、肺胞上皮まで損傷されると血漿成分を含んだ滲出液が肺胞腔内に充満し、肺胞性肺水腫の状態となります。

■現在の治療法と問題点

現在、患者の生存率を直接的に改善させる薬剤は、残念ながら知られていません。炎症を抑え、免疫を抑制する作用を持つステロイドは、ARDSの原因となる肺の炎症を抑えるために使用されます。また、中等症から重症の場合には、人工呼吸管理をサポートするために筋弛緩薬が使用されることがあります。

◎薬物療法

苦しくなった呼吸を補助するために、薬物を用いて治療をします。ARDS薬物療法で推奨されるのは、少量のステロイドで、ステロイドは炎症を抑えて免疫を抑制する作用があります。中等度から重度であると判断された場合は、患者の自発呼吸する力を弱め、人工呼吸器に呼吸を任せるようにすることで、呼吸を安定させて管理しやすくするために、筋弛緩薬の使用も検討されます。



Tie2受容体アゴニスト（AV-001） – 共同開発品 –

◎呼吸療法

ARDSは、肺が損傷することで呼吸がしにくくなるなどの症状が出ます。まずはスムーズに呼吸ができるようにすることが大切なため、鼻にチューブを挿れる高流量鼻カニュー酸素療法や酸素マスクを用いることで酸素投与や呼吸の補助を行います。

また、人工呼吸器を使用する場合、肺が膨らみすぎる・圧がかかりすぎると肺が傷つく人工呼吸関連肺傷害が起こる可能性があるため、人工呼吸器を使用する場合は呼気終末陽圧という圧を調整し、正しく人工呼吸器を行うことで肺が傷つくリスクを最小限に抑えられます。

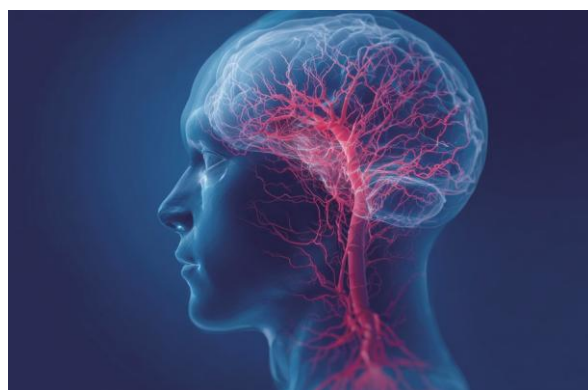
■作用機序

AV-001はTie2-アンジオポエチンシグナル伝達軸を活性化し、複数の下流経路を刺激することにより、内皮細胞の安定性を高め、正常なバリア防御を回復させ、血管系を正常化します。血管系の正常化により、結果として血管漏出を阻止し、細菌性及びウイルス性の急性呼吸窮迫症候群、敗血症、出血性ショック、急性腎障害、脳卒中、血管性痴呆などの患者の基礎疾患病態生理に影響を及ぼしている血管機能障害を改善する可能性があります。重要なことは、実験動物を用いた複数の前臨床試験においてAV-001が内皮細胞間の結合を強化し、内皮細胞の生存を促進したことで、肺水腫が減少し、肺機能が改善し、生存率が有意に改善したことです。

■ARDSの患者数

2000年に公表された、米国ワシントン州の疫学調査では、10万人あたり年間64人がARDSを発症していると報告されています。ARDS発症後の死亡率は約40%にも達し、たいへん予後が悪い病態です。

米国の複数の研究データによると、集中治療室に入院した患者の約10～15%がARDSを発症しているといわれています。米国国立心肺研究所（NHLBI）の呼吸困難症候群に関するタスクフォースは、米国におけるARDSの発生率を年間15万例と推定しています。



■アンジェスの取り組み

当社は、2018年よりカナダのバイオ医薬品企業 Vasomune Therapeutics（以下、「Vasomune社」）と共同で、ARDSの治療薬AV-001を開発しています。Vasomune社は2014年にトロント（カナダ）で設立され、血管正常化戦略に注力しており、サニーブルック病院のサニーブルック研究所で発見・設計されたAV-001を開発しています。

当社は、AV-001の開発により、ARDS患者の肺機能を改善する治療薬の実用化を目指しています。

また、2025年には医師主導試験として、新たに血液透析によって認知機能に障害をもたらす細胞毒性脳浮腫を軽減し、脳の白質の機能を維持できるか評価を開始しました。2026年1月に最初の患者が登録されました。このような新たな適応を含む血管漏出が関与する疾患領域への応用可能性を検討するため、新たなAV-001共同開発契約をVasomune社と締結しました。

ゲノム編集治療薬 – EmendoBio（子会社）開発品 –

当社子会社であるEmendoBio Inc. では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPR ノックアウト（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」を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ノックアウト（OMNIノックアウト）を数多く作出し、特許を出願しています。

■ EmendoBio のゲノム編集技術の特徴

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（ノックアウト）を利用して遺伝子を改変する技術です。

オフターゲット効果の回避

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、EmendoBio社の技術では、ノックアウトを改良し、オフターゲット効果の少ない、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。

- 100%相補的でなければ切断しないノックアウトを、標的配列ごとに迅速に作出する手法を開発
- DNA切断酵素の汎用性は損なわれるが、高度な特異性により、安全性の向上に寄与
- ゲノム内に標的配列と似た配列が存在しても、それを切断することなく、標的配列の選択の自由が向上

独自プラットフォームの確立（OMNI Platform）

EmendoBio社では、新たな特徴を持ったOMNIノックアウトを数多く作出し、数多くのOMNIノックアウトの中から適切なノックアウトを選択して、それをさらに標的配列に対して最適化します。

新たなノックアウトの探索とその最適化技術によって、安全で有効な治療の開発を進めています。

■ 対象疾患

ELANE 関連重症先天性好中球減少症

ELANEは好中球エラスターゼ遺伝子の呼び名です。好中球は、通常は体の中で造血幹細胞から絶え

ず分化・成熟します。しかし、ELANE遺伝子に異常があると、好中球に分化しようとする細胞でこの遺伝子が働き始めた時に、異常なタンパク質が作られることによって好中球が成熟できなくなり、その結果、好中球数が減少します。

生後早期からの著しい好中球減少に伴うブドウ球菌、レンサ球菌の増加による中耳炎、気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症などを繰り返し発症します。肺炎、敗血症といった重症感染症も発症します。また、およそ2歳までに口腔内潰瘍と有痛性の歯肉炎や口内炎をきたします。びまん性の消化管病変によるクローン病に似た腹痛や下痢も起こします。

■ 現在の治療法と問題点

感染予防が重要であり、ST合剤の連日投与、必要であれば抗真菌薬の投与、歯科医による口腔ケアが必要になり、ST合剤の副作用として、発疹や血液障害があり、注意が必要です。また、根治療法として造血細胞移植が選択される症例が増えていますが、どのタイミングで造血細胞移植を行うか、確定はしていません。

■ 作用機序

この疾患の治療では、異常がある遺伝子を取り除く必要があります。

私たちは父親と母親から受継いだそれぞれの遺伝子をもっており、そのDNA配列は通常ほとんど同じですが、片方の遺伝子のたった1ヶ所だけが異なることによって遺伝病の原因となることがあります。遺伝子の異常により有害な働きを獲得したタンパク質ができることによって発症する疾患では、異常な遺伝子を削除して有害なタンパク質ができないようにする必要があります。幸い、父親と母親から受継いだ遺伝子がありますので、片方の異常な遺伝子を削除すれば、もう片方の遺伝子の働きによって、正常に好中球が分化・成熟することが期待できます。

しかし、この時、正常な遺伝子を傷つけないようにしなければなりません。このためには、両親から受継いだ2つの遺伝子間のたった1ヶ所の違いを識別し、正常な遺伝子を傷つけないで異常な遺伝子のみを編集で

ゲノム編集治療薬 – EmendoBio（子会社）開発品 –

きる精度が必要で、偶然似たDNA配列を持つ関係のない遺伝子を編集してしまうリスク（オフターゲット効果）を極力無くする必要があります。

■ ELANE 関連重症先天性好中球減少症の患者数

有病率は1:250,000だが、診断不足の可能性が高く、世界中で約16,000人の患者がいると推定されます。

■ アンジェスの取り組み

当社は2019年にEmendoBio社に出資を行い、その後2020年には同社を子会社化し、ゲノム編集技術の開発に本格的に着手しました。

EmendoBio社は、独自のDNA切断酵素（ヌクレアーゼ）を多数開発しており、標的部位と異なる部位を切断してしまう「オフターゲット効果」の少ない高精度のゲノム編集が可能なヌクレアーゼ（OMNIヌクレアーゼ）の開発を進めています。

OMNIヌクレアーゼを最適化することで、オフターゲット効果の発生を抑制し、精度の高いゲノム編集が可能となります。

EmendoBio社の持つこのような高精度なゲノム編集技術は、あらゆるゲノム編集治療を安全に行うための必須な技術であり、今後のさらなるゲノム編集治療の発展に貢献できるよう開発を進めています。

EmendoBio社のその他開発品の標的疾患

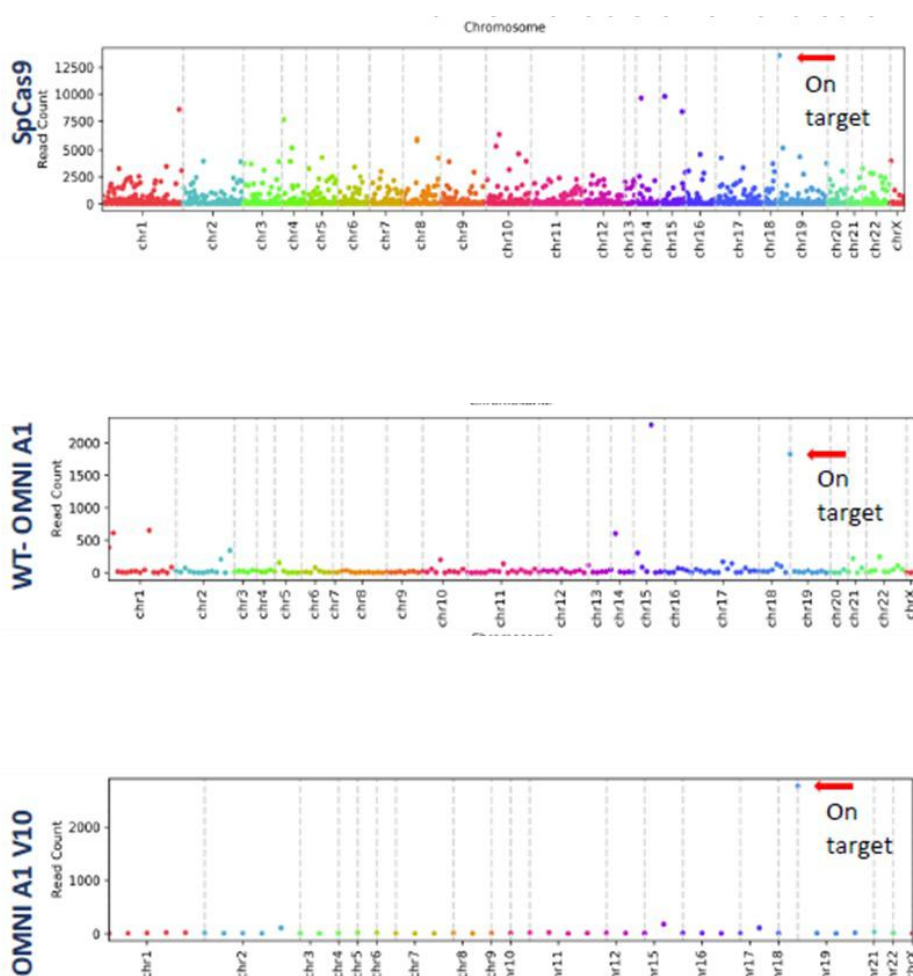
ホモ接合性家族性高コレステロール血症を含む脂質異常症

動脈硬化性心血管患

A1AD

マクロファージ

各種免疫腫瘍学



導入品事業

海外で販売されていても、日本国内では販売されていない医薬品の日本国内への導入を進めてまいります。

特に、患者数の少ない希少疾患の治療薬については、日本国内で販売されていないものが多数存在しており、国内で治療にあっている先生方と協働し、短期間での製造販売承認の獲得を目指してまいります。

ゾキンヴィ（製品）

■対象疾患

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PDPL）

所謂早老症といわれる疾患で、若い時点から死亡率が加速度的に上昇します。HGPSは、LMNA遺伝子の点突然変異により、ファルネシル化（※1）された変異タンパク質であるプロジェリンが生成、蓄積されることにより発症します。

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が生成され、老化が促進されます。

いずれの病型ともに、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、関節拘縮、骨格形成不全、動脈硬化の促進などの早老症状が現れ、動脈硬化性疾患（心筋梗塞あるいは脳卒中）により若年期に死亡するとされ、HGPSの平均年齢は14.5歳と報告されています。

※1 ファルネシル化：タンパク質に行われる修飾の一種です。ファルネシル化酵素により、タンパク質の末端にはファルネシルが結合します。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あるいは核膜の内膜につなぎ留められます。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞あるいは核の上に代謝を受けず存在するようになります。

■作用機序

ゾキンヴィは、上記遺伝子変異によるファルネシル化された変異タンパクの蓄積を阻害します。

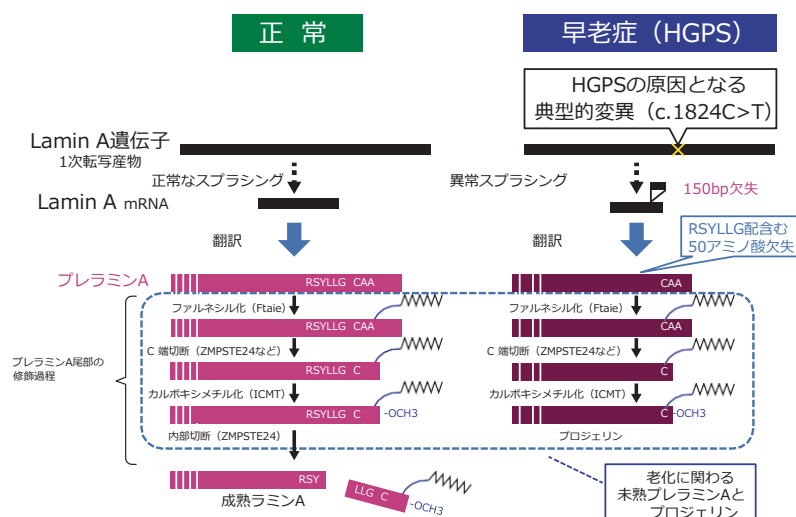
■患者数

HGPSは出生児400万人に1名の割合で発症し、世界で約140名の患者が、PDPLは世界で約50名の患者がいます。

■アンジェスの取り組み

「ゾキンヴィ」は、米国において2020年11月に承認を得て販売され、その後、欧州連合、英国でも承認されました。当社は、2022年5月に日本における独占販売権を取得し、2023年3月に厚生労働省により希少疾病医薬品（オーファン・ドラッグ）の指定を受け、2024年1月18日に製造販売承認を取得し、2024年4月17日に薬価基準に掲載され2024年5月27日に販売を開始しました。

また、東京大学医学部発のAI スタートアップ「Opti mAIze Consulting」と共同研究契約を締結し、独自AI解析により、研究開発期間とコストを大幅に圧縮できる効率的な戦略等を検討し、新たな適応症開発の可能性を探索します。



検査事業

当社は、希少遺伝性疾患検査を主目的とした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（ACRL）を2021年4月に開設しました。

希少遺伝性疾患には、生後間もない時期には特徴的な症状が少なく、通常の診断では発見が難しい疾患もあります。希少遺伝性疾患の治療は、発症早期、望ましくは発症前から開始することが重要です。希少遺伝性疾患についても治療が可能なものが増えていますが、治療が可能であっても、症状が出る前に治療を始めないと、望ましい治療効果が得られない疾患があります。

ACRLは、開設以来拡大新生児スクリーニング検査を受託しています。当初は、「一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）」が提供する拡大新生児スクリーニング検査「オプションルスクリーニング」の検査業務を受託しておりましたが、2024年8月からは自治体及びその関連団体から直接拡大新生児スクリーニング検査を受託しています。

また、2024年5月のゾキンヴィ発売に合わせて、その対象疾患であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）並びにプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PDPL）の確定検査として、「遺伝学的検査」の体制を構築し、受託を開始しました。

「スクリーニング検査」に加え、「精密検査・遺伝学的検査」「バイオマーカー検査」の受託も開始し、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を提供しています。

特に、ムコ多糖症のスクリーニングで発生する偽陽性の二次スクリーニングとしてバイオマーカー検査を活用することで、受検者やその家族、医療関係者の負担軽減に貢献しています。



国内最大の14疾患を対象とした拡大新生児スクリーニング

希少遺伝性疾患は、症状が出る前に早く見つけて、適切な時期に治療を開始しないと十分な治療効果が得られません。

また、これらの疾患は稀な病気なので、日常的な診療で見つけることが難しいものが多く、見つけた時には症状が進行してしまっている場合もあります。

	疾患	スクリーニング検査法	治療法
1	ムコ多糖症（MPS）Ⅰ型	濾紙血酵素活性	酵素補充、造血幹細胞移植
2	ムコ多糖症（MPS）Ⅱ型	濾紙血酵素活性	酵素補充、造血幹細胞移植
3	ムコ多糖症（MPS）ⅣA型	濾紙血酵素活性	酵素補充
4	ムコ多糖症（MPS）Ⅵ型	濾紙血酵素活性	酵素補充、造血幹細胞移植
5	ムコ多糖症（MPS）Ⅶ型	濾紙血酵素活性	酵素補充、造血幹細胞移植
6	ファブリー病	濾紙血酵素活性	酵素補充、化学シャペロン
7	ポンペ病	濾紙血酵素活性	酵素補充（乳児型では生後可及的早期に）
8	ゴーシェ病	濾紙血酵素活性	酵素補充
9	ニーマンピック病 A/B 型	濾紙血酵素活性	酵素補充
10	クラッペ病	濾紙血酵素活性	造血幹細胞移植（乳児型では生後可及的早期に）
11	副腎白質ジストロフィー（ALD）	C26: 0-lyso- ホスファチジルコリン	大脳型：造血幹細胞移植（発症後直ちに）
12	脊髄性筋萎縮症（SMA）	SMN1 遺伝子定量 PCR	アンチセンス核酸薬、遺伝子治療（乳児型では生後可及的早期）
13	重症複合免疫不全症（SCID）	TREC 定量 PCR	造血幹細胞移植
14	アデノシンデアミナーゼ欠損症	ADO	酵素補充、造血幹細胞移植

柔軟な契約形態

検査項目を特定のパッケージで受託する機関もありますが、ACRLでは、ご要望に応じて、臨機応変な対応が可能です。

・14の疾患全てのスクリーニング検査の受託をする（自治体①）

・一部の疾患の検査のみを受託する（自治体②③）

疾患No	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	13	14
自治体①	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL
自治体②	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	検査所 A	検査所 A	—
自治体③	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—	—	—	ACRL	検査所 B	検査所 B	—

国内で唯一、希少遺伝性疾患検査におけるワンストップ対応が可能

事業収益性が見込めないなどにより、希少遺伝性疾患検査の全てを一つの検査機関で実施しているところが少ない中、ACRLでは、医師や自治体の皆さまが、複数の検査機関に依頼しなくても、「スクリーニング検査」や「遺伝学的検査」、「バイオマーカー検査」と希少遺伝性疾患検査に必要な体制・機能を備えており、自治体や医療機関の皆様からの窓口を一本化することが可能です。

Corporate Overview

企業市民アンジェス（ESG）

アンジェスは、社会の一員として地域社会や環境に貢献すべく活動しています

■ Environment（環境）

●環境負荷低減

アンジェスは、株主の方へお送りする「アンジェス通信」の印刷にあたり、環境負荷を抑えるため、VOC（揮発性有機化合物）を含まず、その他の有害な成分の使用量が少ない、植物性の環境にやさしい「エコインク」を導入しています。

■ Social（社会）

●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医薬品の開発

- ・生命が長い時間をかけて獲得した遺伝子の力を借りた画期的な遺伝子医薬（遺伝子治療、核酸医薬）の開発
- ・難病、希少疾患など治療法がない疾病分野における、日本で販売されていない医薬品の導入・販売
- ・新生児をはじめ、希少遺伝性疾患の早期発見、早期治療を実現するための検査事業

●多様性の確保

遺伝子医薬の研究開発という専門家領域で、女性をはじめとした多様で優秀な人材を確保していくことは、企業の持続的な発展のためには不可欠です。女性のキャリア形成や上位職への登用など、機会の拡大を積極的に進め、多くの優秀な女性社員が活躍する組織を目指しています。当社グループは女性管理職を積極的に登用し、多様性の確保に取り組んでいます。

■ Governance（ガバナンス）

アンジェスは、上場企業として社会的使命と責任を果たし、業務の適正確保及び企業価値の維持と創造を図り、コーポレート・ガバナンスをより一層充実させることを基本的な考え方としています。

経営環境の変化に対してより迅速かつ機動的に対応できる経営体制を構築するとともに、法令の順守と経営の透明性を確保し、経営と執行に対する監督機能の強化を図り、ステークホルダーの信頼に応えることのできる体制を整備しています。

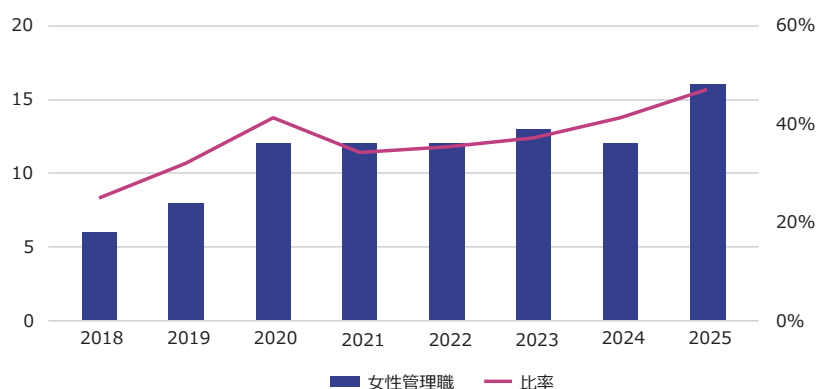
●取締役会

- ・取締役会は、原則毎月1回開催し、会社の重要な業務執行に関する決定を行います。
- ・取締役は4名のうち2名を社外取締役（独立役員）としており、経営監督機能の強化を担っています。

●監査役会

- ・監査役会は、原則月1回開催し、監査に関する重要な事項について審議及び決議を行います。
- ・監査役会は、3名の社外監査役で構成され、うち1名が常勤監査役です。各監査役は取締役会に出席し、取締役の職務執行の適法性を中心に監査しています。
- ・また、常勤監査役を中心として、必要に応じて取締役及び各部門の業務執行状況を監査し、代表取締役社長との意見交換等を通じて必要な措置を講じる体制を構築しています。

管理職に占める女性の割合推移



会社情報

■会社概要

商号	アンジェス株式会社
代表者	山田 英（代表取締役 社長）
設立年月日	1999年12月17日
資本金	40,228百万円（2025年12月末現在）
従業員数	56名（2025年12月末現在：連結）
主な事業	遺伝子医薬品の研究開発・希少遺伝性疾患検査受託

■事業所

本 社

〒567-0085 大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号 彩都バイオインキュベータ

東京支社

〒108-0014 東京都港区芝四丁目13番3号 PMO 田町Ⅱ 9階

殿町研究開発センター（CMC 開発部・創薬研究部）

〒210-0821 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-14ナノ医療イノベーションセンター内

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）

〒210-0821 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-13川崎生命科学・環境研究センター内

■グループ会社

AnGes USA, Inc.

111 Town Square Place, Suite 1150, Jersey City, New Jersey, 07310 USA EmendoBio Inc.

111 Town Square Place, Suite 1150, Jersey City, New Jersey, 07310 USA



