2020年3月31日

各位

会 社 名　アンジェス株式会社
代 表 者　代表取締役社長 山田 英
（コード番号 4563 東証マザーズ）
問合せ先 広報・IRグループ
電話番号 03-5730-2641

＜ マザーズ ＞ 投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

記

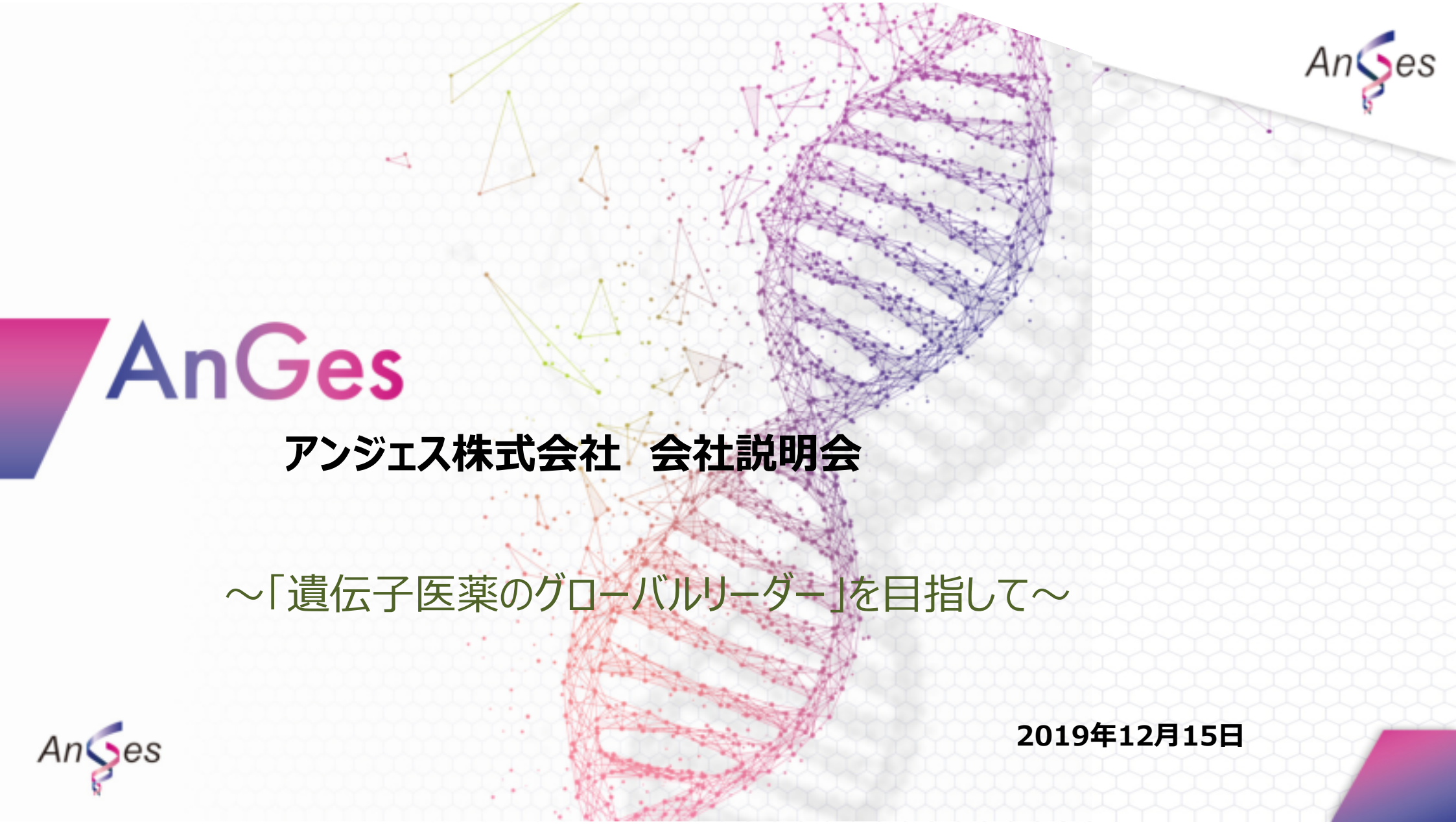
開催状況

・開催日時	2019年12月15日（日） 14:00～15:45
・開催方法	対面による実開催
・開催場所	SMBCホール （三井住友銀行東館 ライジング・スクエア内 3階） 東京都千代田区丸の内1－3－2
・説明会資料名	会社説明会資料

添付資料

・説明会において使用した資料

以 上



アンジェス株式会社　会社説明会

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～

2019年12月15日

◆ 本資料に記載されている業績予想、将来見通し等は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が判断した予想・見通しであり、潜在的なリスクや不確実性が含まれています。

◆ それらのリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの取得承認、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。

◆ 様々な要因の変化により、実際の業績は記述している予想とは大きく異なる結果となる可能性があります。

本日お話しすること

- 最新リリースに関してのご説明
- 既存開発パイプラインの状況
- HGF遺伝子治療用製品の海外治験に関して
- 今後の取り組みについて
- 将来ヴィジョンについて
- 質疑応答

01

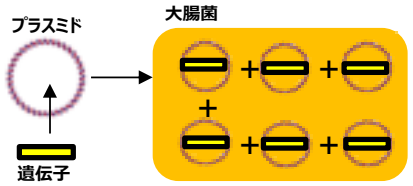
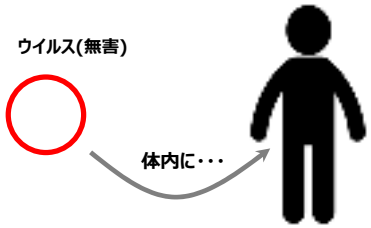
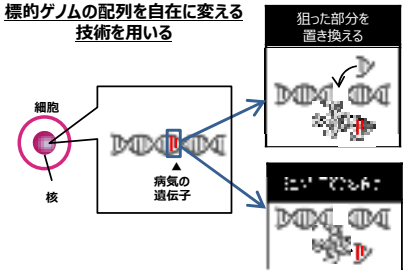
最新プレスリリースのご説明

先日発表したEmendo社への追加出資に関して、

ご説明させていただきます。

現在の遺伝子治療には、３つの方法があります

プラスミド
製品世界初！

①プラスミド	②ウイルスベクター	③ゲノム編集
遺伝子導入のベクターとしてプラスミドを用いる	ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法	標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる
		
大腸菌などの細菌に存在する環状のDNAであるプラスミドに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。	人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。 ＊ベクターとは、遺伝子を核の中に導入するための道具	生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、正常な遺伝子に書き換える技術。
遺伝子治療国内初！ 2019年製品化 **HGF** アンジェス株式会社（日本）	遺伝子治療世界初！ 2012年製品化 **グリベラ** 株式会社ユニキュア（オランダ）	（まだ実用化されていない）

ゲノム編集とは

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、
思い通りに遺伝子を改変する技術。

ゲノム編集とは　（第１～第２世代）

ゲノム編集には３つの技術があります。

★第１世代：ZNF ジンクフィンガーヌクレアーゼ
(Zinc finger Nuclease)

→1990年代中頃、ゲノム上の特定部位にアプローチできる新たな技術として注目されたが、正確性には課題は課題があった。

★第２世代：TALEN ターレン
(Transcription activator like effector)

→2010年、狙ったDNA配列を認識する難しさ、特異性の問題を大きく改善した。

標的とするDNA配列ごとに対応したタンパク質を新たに作成する必要があり、ノウハウと時間、労力を要することが課題であった…

ゲノム編集とは　（第３世代）

★第３世代：CRISPR-Cas9 クリスパーキャスナイン
(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats or CRISPR-associated)
→2012年、
これまでよりも、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革命的な技術である。
クリスパーの場合は、RNAが特定の塩基配列を認識します。これをガイドRNAと言います。
ガイドRNAをくわえ込むようにして、タンパク質とRNAの複合体として、部位特異的ヌクレアーゼが構成されていて、ガイドRNAによって認識された塩基配列のところで、ヌクレアーゼが働いて、特定の塩基配列が切断されます。クリスパーの場合は、特定の塩基配列毎にヌクレアーゼを設計する必要はなく、切断したい配列に合わせて、ガイドRNAを設計すればよいわけです。そして、ヌクレアーゼの方は、同じものを使い廻しすればよいので、ジンクフィンガーやターレンとは比べ物にならない利便性があり、急速に普及した。

爆発的に普及はしたが、未だ医療で実用化に至っていない理由がある。
それは、狙ったところと違うところを切ってしまう“オフターゲット効果”が課題・・・

オフターゲット効果とは？



標的配列を100%
切断することが理想。



標的配列に似た配列でも
切断されることがある。

オフターゲット効果

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

Emendo社の紹介

ゲノム編集で可能なことを拡大するために設立された。

ゲノム編集の最先端で働くEmendoチームは、タンパク質工学、分子生物学等の専門知識を融合し、実績のある科学的方法論と創造性を組み合わせて、コアとなる課題を新しいアプローチで解決することにより、ゲノム編集技術の応用範囲を拡大していきます。

本社	17 State Street New York, NY 10004 USA
CEO	David Baram
設立	2015年12月
資本金及び資本準備金	7,971千ドル（2018年12月現在）※約8億7681万円
事業内容	重篤な疾患や障害の原因となる細胞の遺伝子異変を修復、除去することができるゲノム編集技術の開発。

Emendo社の取り組み



標的配列に類似した
配列が存在しても100%
相補的でなければ切断しない。

オフターゲット効果の回避

- 100%相補的でなければ切断しないヌクレアーゼを、 標的配列ごとに迅速に作出する手法を開発
- DNA切断酵素の凡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

まとめ

Emendo社では
オフターゲット効果がない、
安全性の高いゲノム編集技術の確立と、
医療への応用を目指している

【参考】クリスパーキャス９開発者が創設したベンチャー企業の現在の評価額

インテリアセラピューティクス （時価総額：1,534億円）	ダウドナが共同創業（2015年上場）
エディタス・メディシン （時価総額：1,943億円）	フェン・チャンが共同創業（2015年上場）
CRISPRセラピューティクス （時価総額：3,101億円）	シャルパンティエが創業（2015年上場）

02

開発プロジェクトについて

最新のトピックス

■HGF遺伝子治療用製品【国内】

●慢性動脈閉塞症における潰瘍に対する条件及び期限付製造販売承認後、
田辺三菱製薬より販売開始。（2019年9月10日）
●慢性動脈閉塞症における安静時疼痛に対する、第Ⅲ相臨床試験を開始。　(2019年10月7日)

■HGF遺伝子治療用製品【海外】

閉塞性動脈硬化症における潰瘍に対する、第Ⅲ相への予備試験を開始（2020年1月～）

■NF-κBデコイオリゴ【椎間板性腰痛症】

第１ｂ相臨床試験を米国にて実施中。（2018年2月～）

■DNAワクチン【高血圧】

第１/２相臨床試験をオーストラリアにて実施中。（2018年4月～）

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	地域	導出先	適応症状	開発ステージ	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	市販
							第Ⅰ相	第Ⅱ相				第Ⅲ相		
HGF遺伝子治療薬	日本	田辺三菱製薬	重症虚血肢							承認済	販売中	実施中		

国内承認取得（2019年3月）

国内販売開始（2019年9月）

■通常の承認制度

適応症状を拡大！

プロジェクト	地域	導出先	適応症状	開発ステージ	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	承認	販売	市販
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相				
HGF遺伝子治療薬	米国	田辺三菱製薬	慢性動脈閉塞症					実施中					
HGF遺伝子治療薬	イスラエル	Kamada	重症虚血肢							申請準備中			
NF-κBデコイオリゴDNA	国内外	–	腰痛症				後期実施中						
DNAワクチン	海外	–	高血圧				実施中						
Tie2受容体アゴニスト化合物	海外		急性呼吸窮迫症候群										
慢性B型肝炎	海外												
エボラ出血熱抗血清製剤	海外		エボラ出血熱										

改定された新しいGVGで Phase2bからスタート！

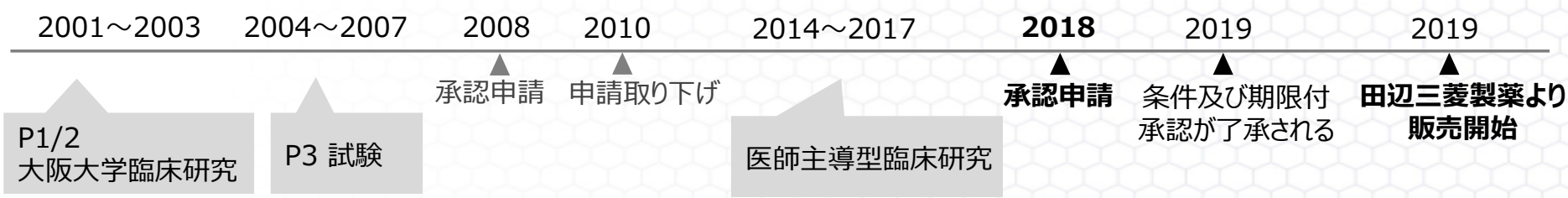
HGF遺伝子治療薬　開発状況

HGF遺伝子をコードしたプラスミド製剤。
HGFは血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において重要な役割をもつ。

- 重症虚血肢の症状の改善

HGF遺伝子治療用製品（重症虚血肢、国内）

対象疾患	重症虚血肢　慢性動脈閉塞症の潰瘍
開発状況	2019年9月10日より　田辺三菱製薬より販売開始



2019年9月：田辺三菱製薬より販売開始

2019年2月：厚生労働省　薬事・食品衛生審議会　再生医療等製品・生物由来技術部会
にて条件及び期限付製造販売の承認。

2018年1月：厚生労働省に対し製造販売承認申請。

2015年　　：田辺三菱製薬と国内における末梢性血管疾患を対象とする
独占的販売権許諾契約を締結。

HGF遺伝子治療薬の
1つの 国内初 と 4つの 世界初

①国内初の遺伝子治療用製品である

②世界初のプラスミド（DNA分子）製品である

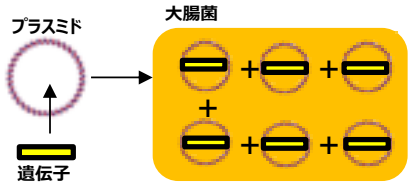
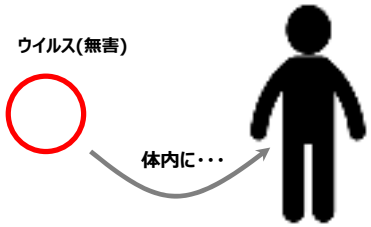
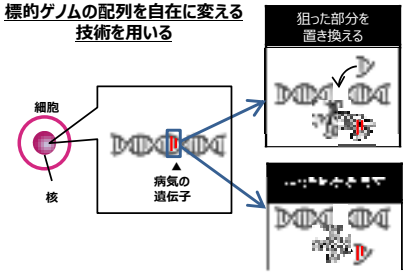
③世界初のHGF実用化製品である

④世界初の末梢血管を新生する治療用製品である

⑤世界初の循環器医療領域での治療用製品である

現在の遺伝子治療には、３つの方法があります

プラスミド
製品世界初！

①プラスミド	②ウイルスベクター	③ゲノム編集
遺伝子導入のベクターとしてプラスミドを用いる 	ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法 	標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる 
大腸菌などの細菌に存在する環状のDNAであるプラスミドに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。	人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。 ＊ベクターとは、遺伝子を核の中に導入するための道具	生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、正常な遺伝子に書き換える技術。
遺伝子治療 国内初！ 2019年製品化 **HGF** アンジェス株式会社 （日本）	遺伝子治療 世界初！ 2012年製品化 **グリベラ** 株式会社ユニキュア （オランダ）	（まだ実用化されていない）

遺伝子治療全体では、グリベラの製品化があったため、日本国内初の遺伝子治療薬となります。

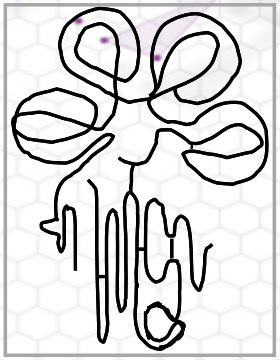
プラスミド手法を用いた製品としては、世界初となります!!!

先進国で承認された遺伝子治療一覧

承認時期	製品名	対象疾患	開発会社	承認地域
NEW 2019年	**コラテジェン**	**慢性動脈閉塞症（重症虚血肢）**	アンジェス（日本）	日本
2019年	Zolgensmas（ゾルゲンマス）	脊髄性筋萎縮症	ノバルティス（スイス）	米国
2017年	Kymriah（キムリア）	急性リンパ芽球性白血病	ノバルティス（スイス）	米国
	Yescarta（イエスカルタ）	大細胞型B細胞リンパ腫	カイト・ファーマ（米国）	米国
	Luxturna（ラクスターナ）	遺伝性網膜ジストロフィー	スパーク・セラピューティクス（米国）	米国
2016年	Strimvelis（ストリムベリス）	ADA欠損症	サンラファエルテレソン研究所（イタリア）	欧州
	Zalmoxis（ザルモクシス）	GVHD予防	モルメド（イタリア）	欧州
2015年	Imlygic（イムリジック）	悪性黒色腫（メラノーマ）	アムジェン（米国）	米国
2012年	Glybera（グリベラ）	リポたんぱくリパーゼ欠損症	ユニキュア（オランダ）	欧州

出典：N Engl J Med. 2019;381:455, Drug Delivery System. 2019;34:99

HGFとは？（肝細胞増殖因子）



肝細胞増殖因子
（Hepatocyte Growth Factor：HGF）

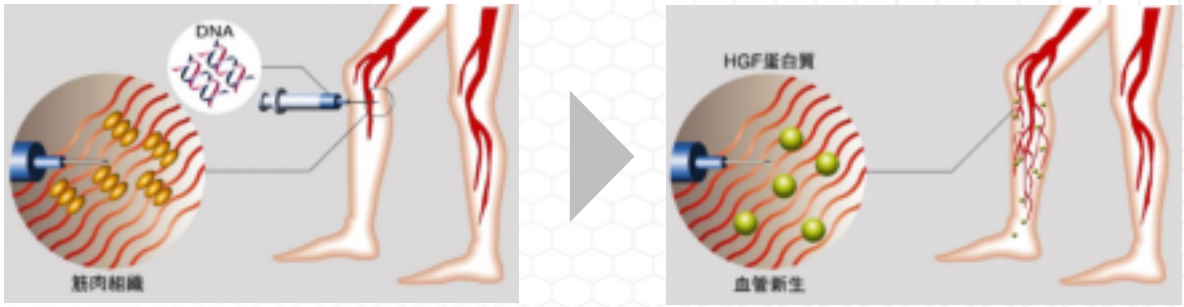
●1984年に日本で発見された成長因子。
最も再生能力の高い臓器である肝臓で最初に発見されたため、
肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor：HGF）と呼ばれる。

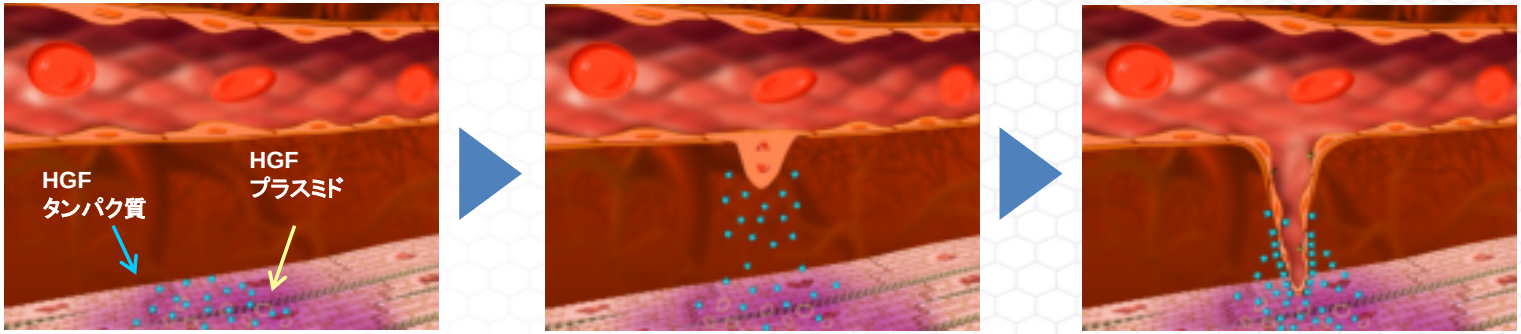
●その後、肝臓のみならず、
血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生
において主要な役割を果たしていることがわかった。

●1995年に大阪大学の研究チームが、
HGFに「血管を新生する」能力があることを発見した。

HGF遺伝子治療薬による血管新生

HGFの血管新生作用により虚血部位の血流を回復させられるのではないかと考え、研究を続けた結果、コラテジェン®の発売にいたった。





重症虚血肢（CLI）とは？

重症虚血肢は、重症の末梢性血管疾患であり、以下のFontaine分類のⅢ度およびⅣ度に相当する。
下肢切断を余儀なくされることもある重篤な病態。

症状の進行

【Fontaine分類】

Ⅰ：	無症状	薬物療法
Ⅱ：	間欠性跛行	血行再建術、薬物療法、運動療法
Ⅲ：	安静時疼痛	血行再建術、薬物療法、 （疼痛：持続硬膜外麻酔）
Ⅳ：	虚血性潰瘍・壊死	血行再建術 潰瘍局所療法

静かにしていても足や足の指先に痛みを感じます。この時の血管は、ほとんど詰まっている状態です。

血管が完全に詰まり、血流が遮断され、栄養や酸素の不足により、ちょっとした傷でも治癒できず、虚血性の潰瘍や壊疽を起こします。



重症虚血肢

HGF遺伝子治療用製品（重症虚血肢、海外）

対象疾患	重症虚血肢　閉塞性動脈硬化症の潰瘍
開発状況	米国での臨床試験を開始

2003～2006
P2試験（米国）

2005～2008
P2試験（米国、追加）

2014～2016
グローバルP3試験

米国、欧州、南米15か国を対象に、**下肢切断リスクの高い**患者を対象に500症例を目指したが、集積数未達により中止

2019～

新たなグローバル治療指針(GVG*)公表(6月)

新たなグローバル治療方針に則った米国申請

*GVG-Global Vascular Guideline
グローバルでの閉塞性動脈硬化症のうち、包括的高度慢性下肢虚血の治療方針

グローバルP2B試験

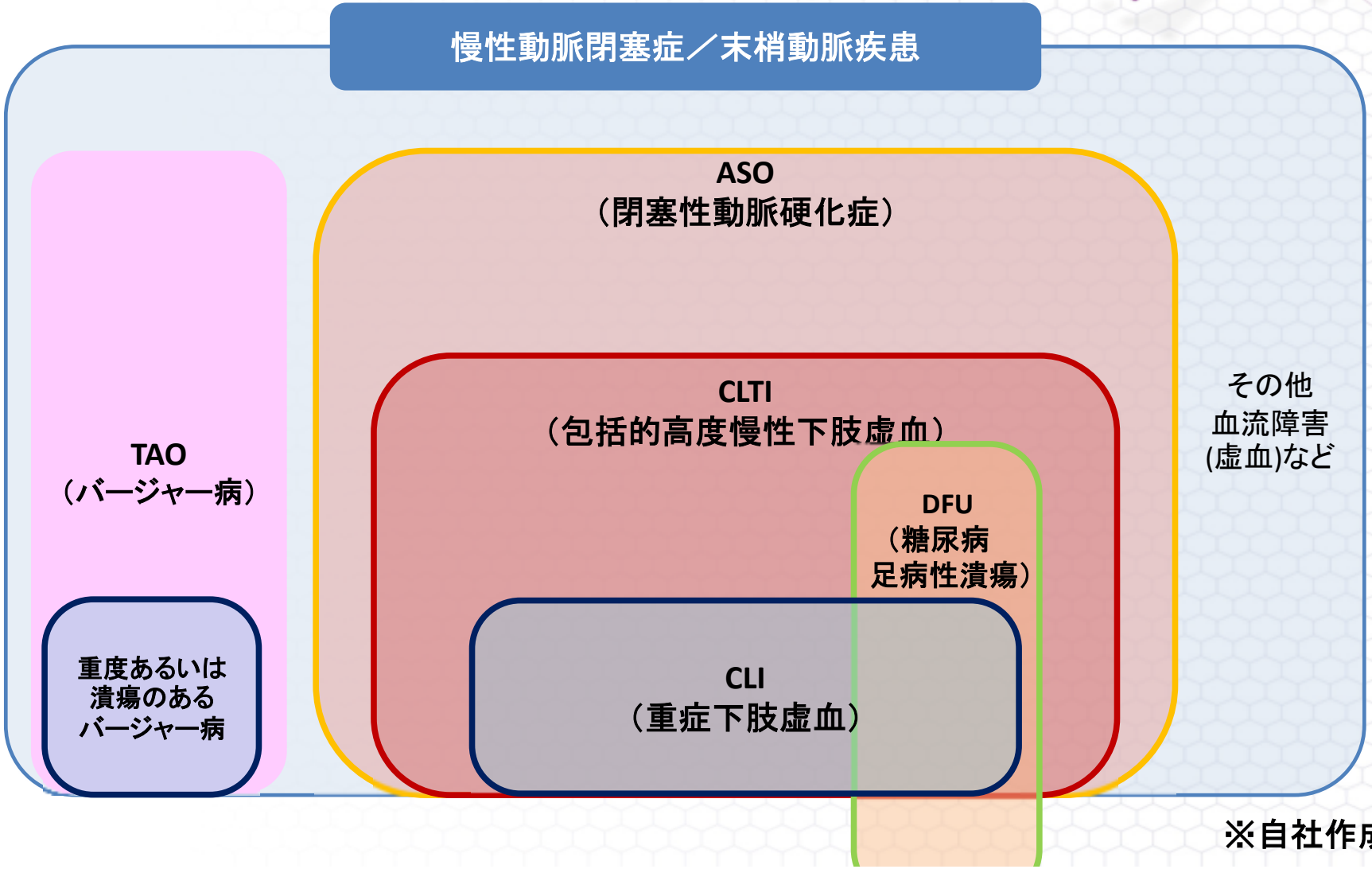
米国で、**下肢切断リスクの低い**患者(ステージ1-2)を対象に60症例集積を目指す

2019年：グローバルP2b試験を開始。
現在、日本より市場規模が大きい米国において、
新たなガイドライン（Global Vascular Guideline）に沿った治験を開始。
米国

2019年：イスラエルを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する
基本合意書をKamada社と締結。
イスラエル

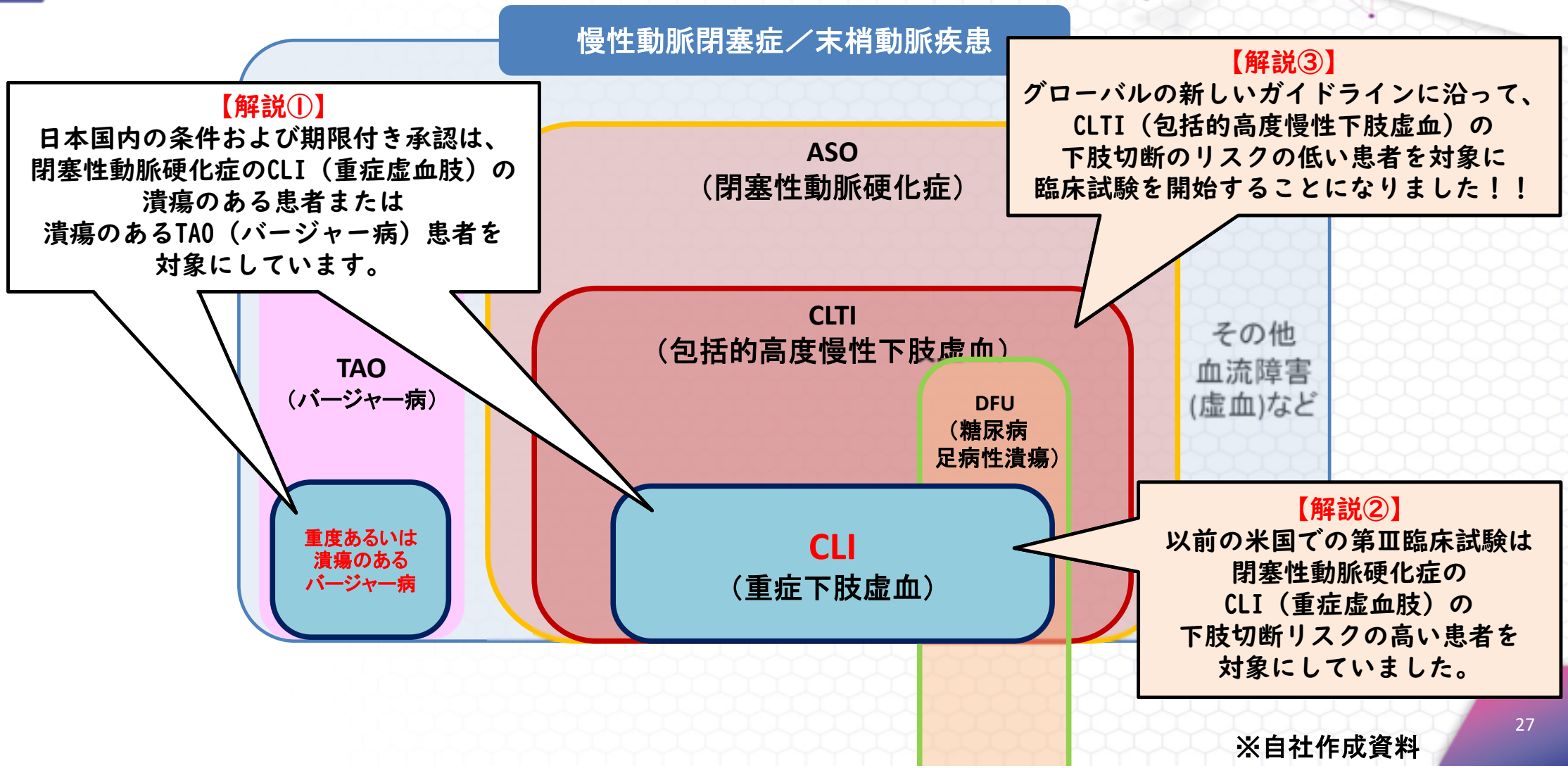
2012年：田辺三菱製薬と米国における末梢性血管疾患を対象とする
独占的販売権許諾契約を締結。
米国

末梢動脈疾患の図



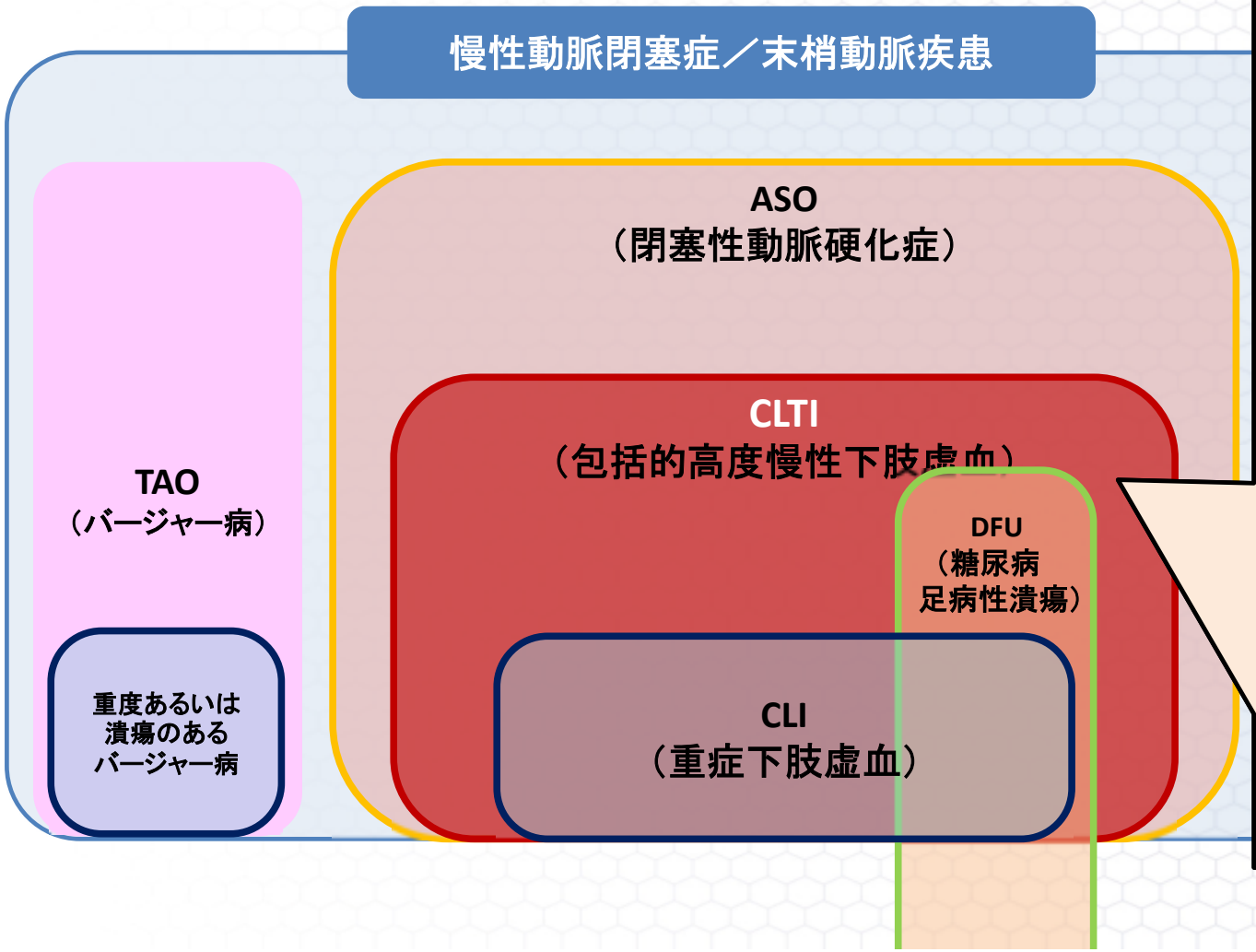
※自社作成資料

アメリカでの対象疾患は？



※自社作成資料

グローバル バスキュラー ガイドラインとは？
Global Vascular Guidelines（GVG™）



【解説④】

2014年、血管外科学会（SVS）、欧州血管外科学会（ESVS）、および世界血管学会（WFVS）が協力して、血管疾患の臨床診療ガイドラインの新しいグローバルコンソーシアムGVG（Global Vascular Guidelines）を立ち上げました。
GVGの初期プロジェクトは、慢性的な四肢を脅かす虚血（CLTI患者）の評価と管理に関するガイドラインで、CLIの治療にはCLTIの観点から、初期症状の患者を含めて治療対象とし治療方法を改善していく必要があると、2019年6月に新しいガイドラインとして改定されました。

※自社作成資料

FDAの承認制度とは？
Food and Drug Administration（FDA）

■FDAとは？

アメリカ食品医薬品局（Food and Drug Administration）の略称で、
医薬品や食品などを取り締まるアメリカ合衆国の政府機関。
例えると日本の厚生労働省に似た役割を持っています。
FDAは、消費者が通常の生活を行う際に接する機会がある様々な製品
（食品、医薬品、動物薬、化粧品、医療機器、玩具など）の安全性・有効性を確保するための機関です。

■FDAの承認制度

従来の日本の制度と同じです。



■米国の薬価のつけ方について

米国では、患者にとって最適な医薬品価格は市場競争の下でもたらされるという概念のもと、
製薬企業が自社製品の企画性・有効性・安全性・マーケットシェアなどを参考して自由裁量で決定します。
国の干渉はなく、海外価値を参照することもありません。

NF-κBデコイオリゴDNA　開発状況

生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子NF-κBに対する特異的な阻害剤。
NF-κB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中。

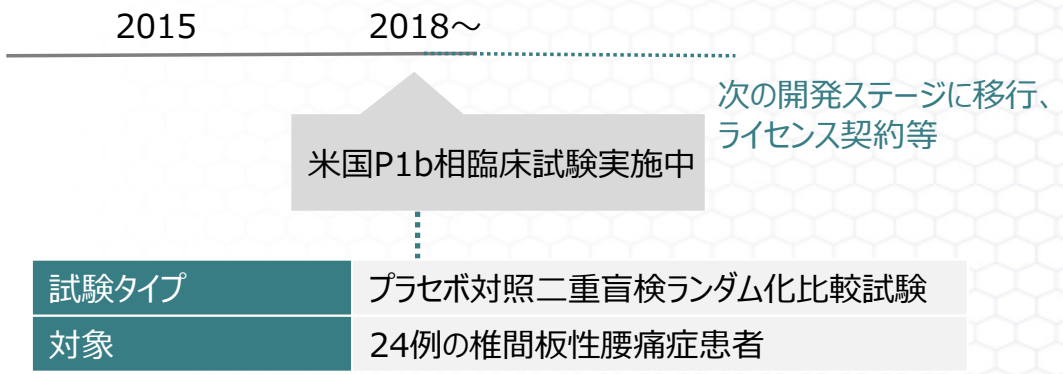
▶ 椎間板性腰痛症

次世代型デコイを開発中。

▶ キメラデコイ

NF-κBデコイオリゴDNA（椎間板性腰痛症治療薬）

対象疾患	椎間板性腰痛症
開発状況	米国P1b相臨床試験実施中（2018年2月～）



試験タイプ	プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験
対象	24例の椎間板性腰痛症患者

2018年2月：米国にてP1b相臨床試験を開始。
⇒当初計画より若干遅れがあるものの特段の問題なく患者登録中。

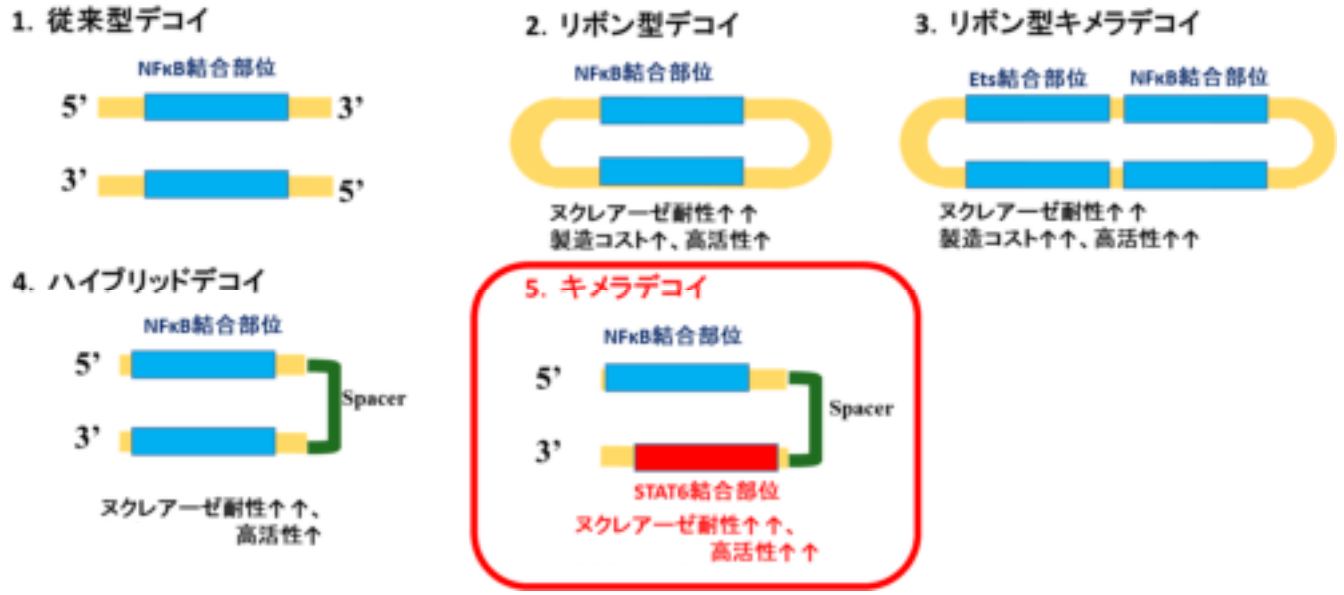
※米国を含め世界での市場規模が大きい。

※米国では椎間板内注射による治療は一般的でこの手技に習熟している医師は多く、また患者数も多い。

次世代型「キメラデコイ」の開発

- 「STAT6」と「NF-κB」という炎症に関わる二つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持つため、従来のNF-κBデコイに比べ、炎症を抑える効果が高いことが期待される。
- NF-κB デコイと比べ生体内の安定性に優れる。

次世代型「キメラデコイ」開発の経緯



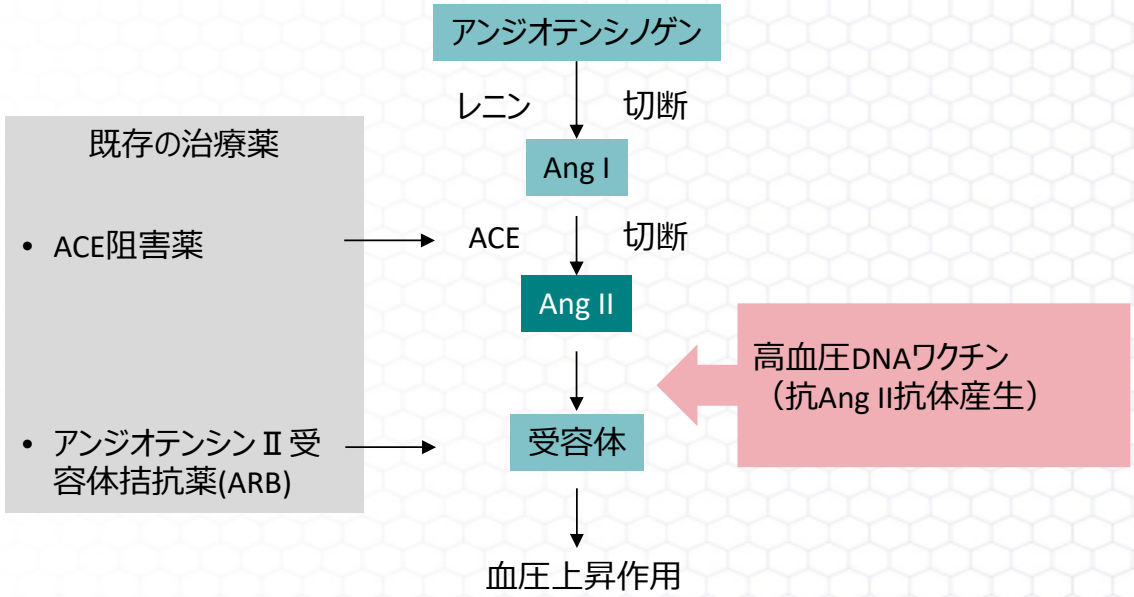
DNAワクチン　開発状況

DNAを利用した治療ワクチン。
作用する期間が長いなど、既存のワクチンに比べ様々な長所を持つ。潜在的な市場規模は大きい。

- 高血圧

高血圧DNAワクチン

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。

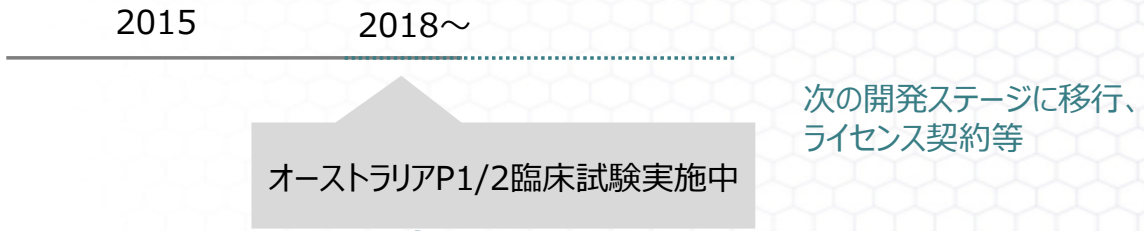


- 犬慢性心不全を対象とした動物用医薬品としても開発中。

（2015年10月5日、ＤＳファーマアニマルヘルス（大日本住友製薬子会社）と共同開発契約締結を発表。）

高血圧DNAワクチン

対象疾患	高血圧
開発状況	オーストラリアP1/2臨床試験実施中（2018年4月～）



試験タイプ	プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験
対象	24例の高血圧症患者

2018年4月より：オーストラリアにてP1/2相臨床試験を開始。
⇒特段の問題はなく計画通りに患者登録中。

※高血圧治療の医薬品市場は、国内だけで5,000億円以上。
発展途上国では薬価の高いARB（アンジオテンシンⅡ受容体拮抗薬）は医療経済上の問題から使用は限定的。

03

今後の取り組み（株主のみなさまに向けて）

広報・IRの
さらなる充実



経営企画室から社長室に移管

IR情報の発信強化

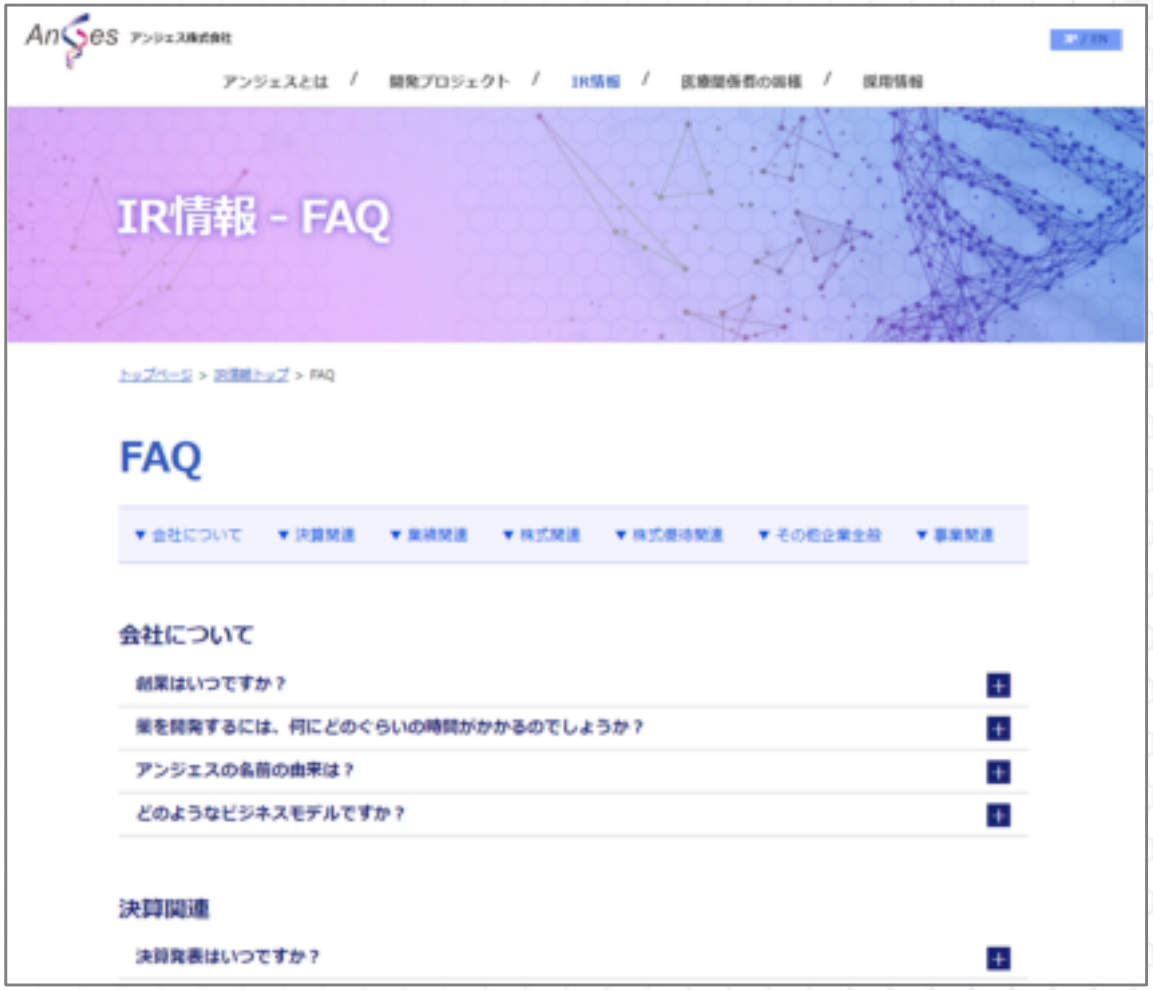
広報ブログによる
分かりやすい情報発信

HPへのFAQ設置
※明日12月16日（月）より

HPのリニューアル実施予定
（2020年4月目標）

営業時間（09:00～18:00）内で
真摯に電話対応いたします

新しいFAQ


アンジェスとは / 開発プロジェクト / IR情報 / 医療関係者の皆様 / 採用情報
IR情報 - FAQ
トップページ > IR情報トップ > FAQ
FAQ
▼ 会社について ▼ 決算関連 ▼ 業績関連 ▼ 株式関連 ▼ 株式優待関連 ▼ その他企業全般 ▼ 事業関連
会社について
創業はいつですか？
薬を開発するには、何にどのぐらいの時間がかかるのでしょうか？
アンジェスの名前の由来は？
どのようなビジネスモデルですか？
決算関連
決算発表はいつですか？

04

今後のヴィジョン

アンジェス株式会社は、

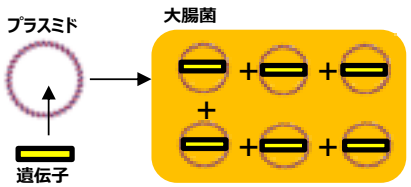
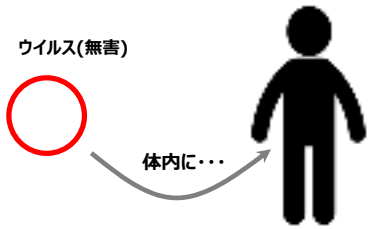
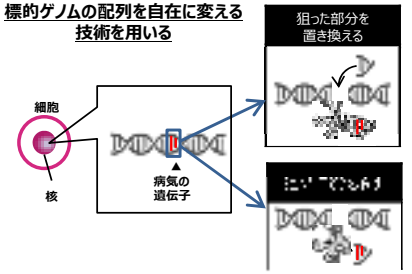
遺伝子医薬のグローバルリーダー

を目指しています。

どうやって、グローバルリーダーになるか？

HGF遺伝子治療薬は“プラスミド製法”を採用！

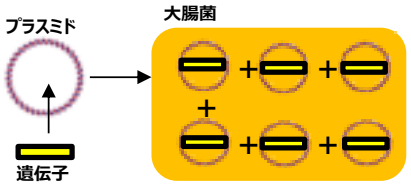
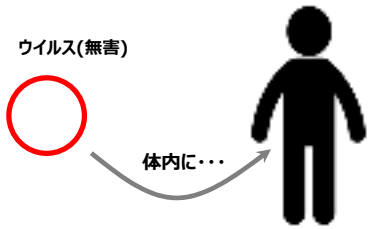
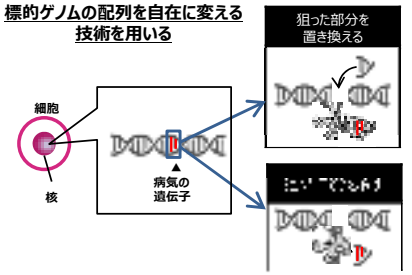
プラスミド製品世界初！

①プラスミド	②ウイルスベクター	③ゲノム編集
遺伝子導入のベクターとしてプラスミドを用いる 	ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法 	標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる 
大腸菌などの細菌に存在する環状のDNAであるプラスミドに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。	人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。 ＊ベクターとは、遺伝子を核の中に導入するための道具	生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、正常な遺伝子に書き換える技術。
遺伝子治療国内初！ **HGF** アンジェス株式会社（日本）	遺伝子治療世界初！ **グリベラ** 株式会社ユニキュア（オランダ）	（まだ実用化されていない）

３つの遺伝子製法を制覇したい！

“ウイルスベクター”と“ゲノム編集”を狙いたい！

プラスミド
製品世界初！

①プラスミド	②ウイルスベクター	③ゲノム編集
遺伝子導入のベクターとしてプラスミドを用いる	ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法	標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる
		
大腸菌などの細菌に存在する環状のDNAであるプラスミドに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。	人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。 ＊ベクターとは、遺伝子を核の中に導入するための道具	生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、正常な遺伝子に書き換える技術。
遺伝子治療 国内初！	遺伝子治療 世界初！	
HGF アンジェス株式会社 （日本）	**グリベラ** 株式会社ユニキュア （オランダ）	（まだ実用化されていない）

私たちは、
遺伝子治療の３つの製法を制覇するために、
国内外を問わず様々な企業や機関と提携をしながら

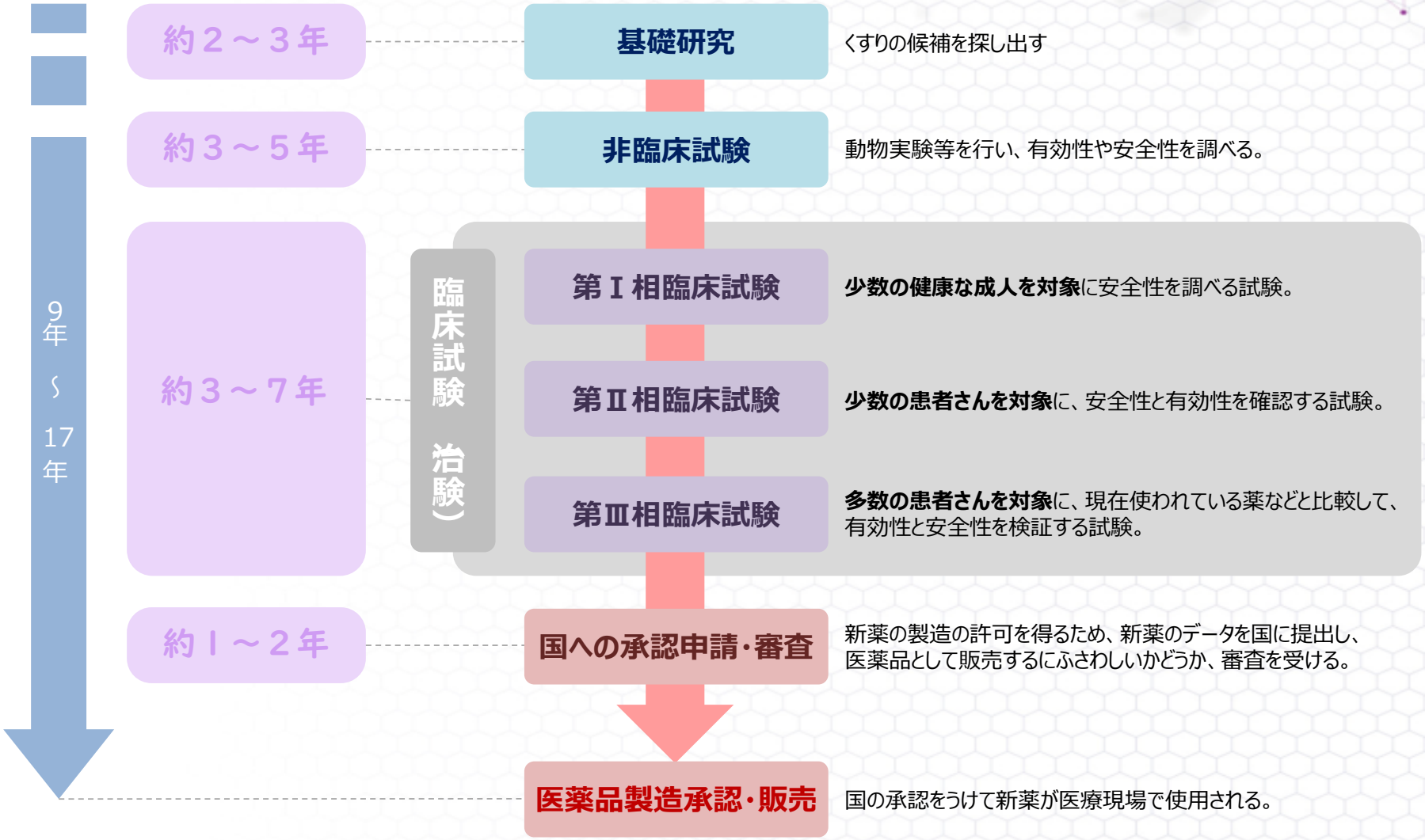
遺伝子医薬のグローバルリーダー

を目指していきます！

05

ご参考資料①
医薬品の開発と遺伝子治療

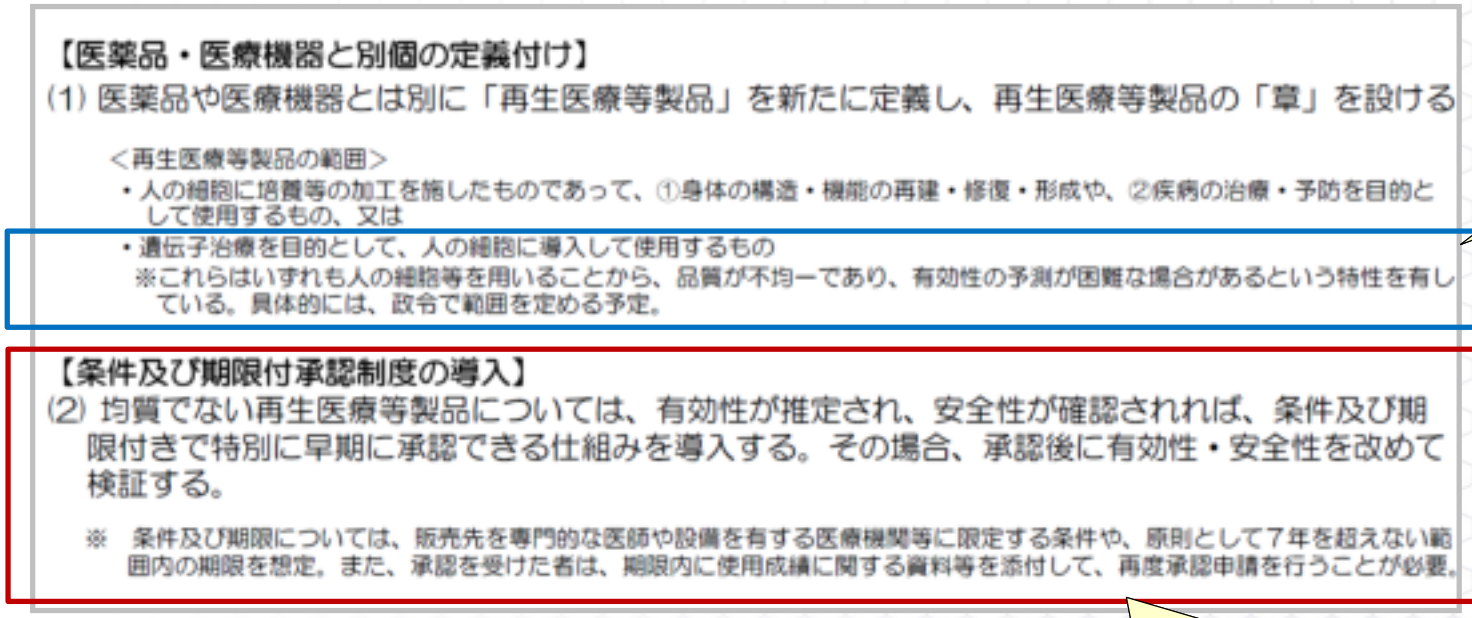
医薬品の開発には・・・


9年～17年
約２～３年
基礎研究
くすりの候補を探し出す
約３～５年
非臨床試験
動物実験等を行い、有効性や安全性を調べる。
約３～７年
臨床試験（治験）
第Ⅰ相臨床試験
少数の健康な成人を対象に安全性を調べる試験。
第Ⅱ相臨床試験
少数の患者さんを対象に、安全性と有効性を確認する試験。
第Ⅲ相臨床試験
多数の患者さんを対象に、現在使われている薬などと比較して、有効性と安全性を検証する試験。
約１～２年
国への承認申請・審査
新薬の製造の許可を得るため、新薬のデータを国に提出し、医薬品として販売するにふさわしいかどうか、審査を受ける。
医薬品製造承認・販売
国の承認をうけて新薬が医療現場で使用される。

国内では遺伝子治療薬の早期実用化が可能に

「条件及び期限付承認制度」の導入

医薬品医療機器等法（2014年11月施行、改正薬事法）に導入された
遺伝子治療を含む「再生医療等製品」に対する早期承認制度。



【医薬品・医療機器と別個の定義付け】

(1) 医薬品や医療機器とは別に「再生医療等製品」を新たに定義し、再生医療等製品の「章」を設ける

＜再生医療等製品の範囲＞

・人の細胞に培養等の加工を施したものであって、①身体の構造・機能の再建・修復・形成や、②疾病の治療・予防を目的として使用するもの、又は

・遺伝子治療を目的として、人の細胞に導入して使用するもの

※これらはいずれも人の細胞等を用いることから、品質が不均一であり、有効性の予測が困難な場合があるという特性を有している。具体的には、政令で範囲を定める予定。

【条件及び期限付承認制度の導入】

(2) 均質でない再生医療等製品については、有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別に早期に承認できる仕組みを導入する。その場合、承認後に有効性・安全性を改めて検証する。

※ 条件及び期限については、販売先を専門的な医師や設備を有する医療機関等に限定する条件や、原則として7年を超えない範囲内の期限を想定。また、承認を受けた者は、期限内に使用成績に関する資料等を添付して、再度承認申請を行うことが必要。

遺伝子治療を含む再生医療等製品が定義される

遺伝子治療薬の早期実用化が可能に

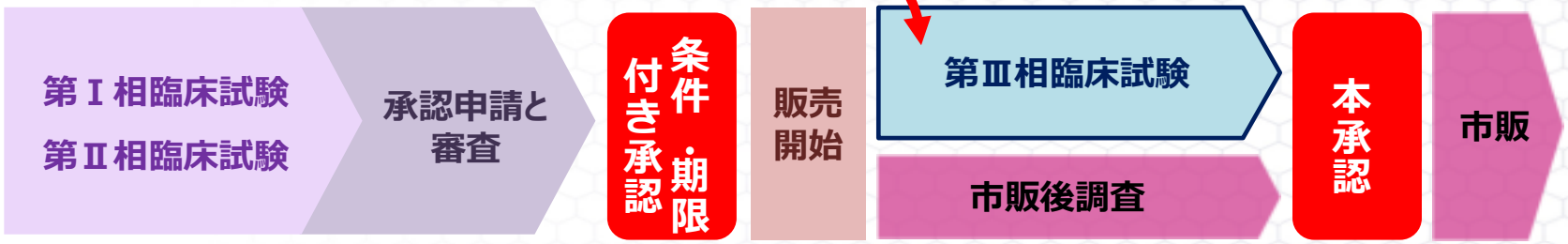
改正薬事法における再生医療等製品の承認審査について－平成26年　厚生労働省資料

条件及び期限付承認制度

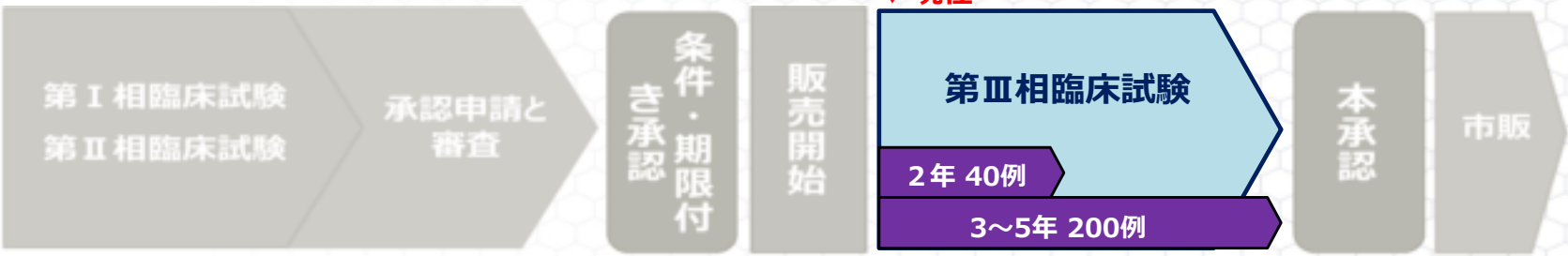
・従来の承認制度



・条件及び期限付承認制度



・HGF遺伝子治療用薬品の現在地



06

ご参考資料②
会社の概要と特徴

株式会社アンジェスの概要

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指す創薬バイオベンチャー

◆沿革

1999年12月	大阪大学医学部の研究成果をもとに「株式会社メドジーン」設立 （2001年に社名を「アンジェス MG株式会社」に変更）
2002年　9月	東証マザーズ上場（産学連携の創薬バイオベンチャーとして初）
2017年　7月	社名を「アンジェス株式会社」に変更
2018年　1月	HGF遺伝子治療用製品の製造販売承認申請
2019年　2月	HGF遺伝子治療用製品の条件及び期限付製造販売承認が了承される
2019年　9月	HGF遺伝子治療用製品コラテジェン®発売開始

◆企業理念

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します

ビジネスモデルと特徴

研究開発

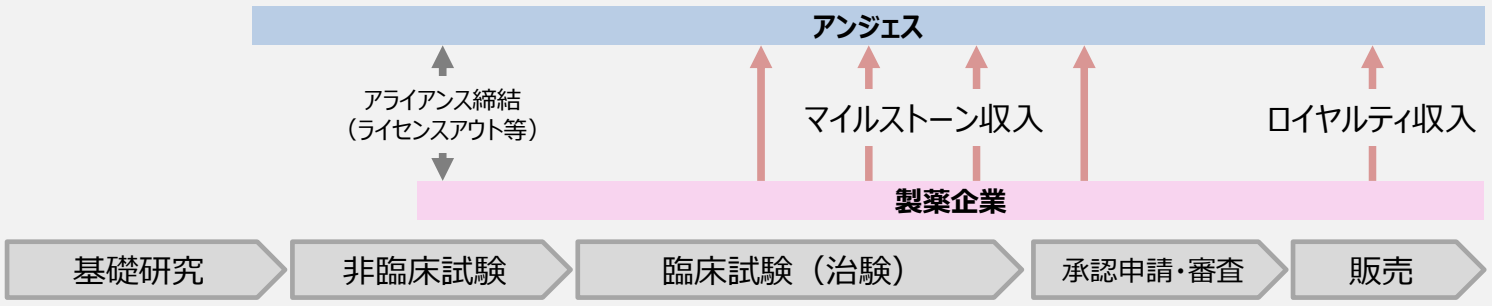
①遺伝子医薬の研究開発に特化

②有効な治療法のない疾患を対象

	開発品	対象疾患
遺伝子治療薬	HGF遺伝子治療薬	重症虚血肢
核酸医薬	NF-κBデコイオリゴ、次世代デコイ	椎間板性腰痛、アトピー性皮膚炎
DNAワクチン	高血圧DNAワクチン	高血圧
その他	ナグラザイム（上市済）	ムコ多糖症

商業化

③商業化で製薬企業と提携



提携状況

＜自社開発品の導出（販売権供与）＞

プロジェクト名	適応症	地域	提携先
HGF遺伝子治療薬	重症虚血肢	日本	田辺三菱製薬
		米国	田辺三菱製薬
		イスラエル	KAMADA
NF-κB デコイオリゴDNA	皮膚疾患全般	全世界	塩野義製薬株式会社

＜導入品＞

プロジェクト名	適応症	当社の権利	提携先
CIN治療ワクチン	子宮頸部前癌	日米英中の開発販売権	バイオリーダース（韓国、導入元） 森下仁丹（再許諾先）

＜提携＞

プロジェクト名	対象	提携先
資本提携	ゲノム編集	EMENDO エメンド（アメリカ）
	マイクロバーム一常在菌の培養、製剤化	MYBIOTICS マイバイオティクス（イスラエル）
	抗がん剤選択のための診断技術	BARCODE DIAGNOSTICS バーコード（イスラエル）
共同開発	急性呼吸窮迫症候群（ARDS）	Vasomune バソミューン（カナダ）
資本提携	DNAワクチンその他	BrickellBio ブリッケル（アメリカ） Vicalと合併

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指す創薬バイオベンチャー

アンジェス ホームページ
https://www.anges.co.jp