

2021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 <https://www.anges.co.jp/contact/>

< 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 | 2021年3月30日(火) 11:45 ～ 2021年4月5日(月) 23:59 |
| ・開催方法 | オンライン形式による開催 |
| ・開催場所 | ハービスホールおよび期間限定特設サイト上 |
| ・説明会資料名 | アンジェス株式会社株主向け会社説明会 |

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 株主向け会社説明会

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2021年3月

1

最新トピック

2

その他事業別トピック

3

2021年度の指針

4

広報IRからのお知らせ

+

補足資料

01

最新トピック

1

新型コロナウイルス DNAワクチン／治療薬の開発

2

Emendo Biotherapeutics の子会社化

3

資金調達について

4

椎間板性腰痛症を対象とした医薬品の開発状況ご報告

【最新トピック①】 新型コロナウイルス DNAワクチン／治療薬の開発

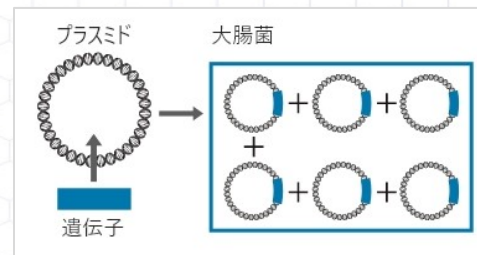
新型コロナウイルスDNAワクチン

世界初のプラスミド製剤による 遺伝子治療用製品で培ったノウハウを活かし、 新型コロナウイルスDNAワクチン開発を実施しています。

HGF遺伝子治療用製品の 開発・製品化の実績

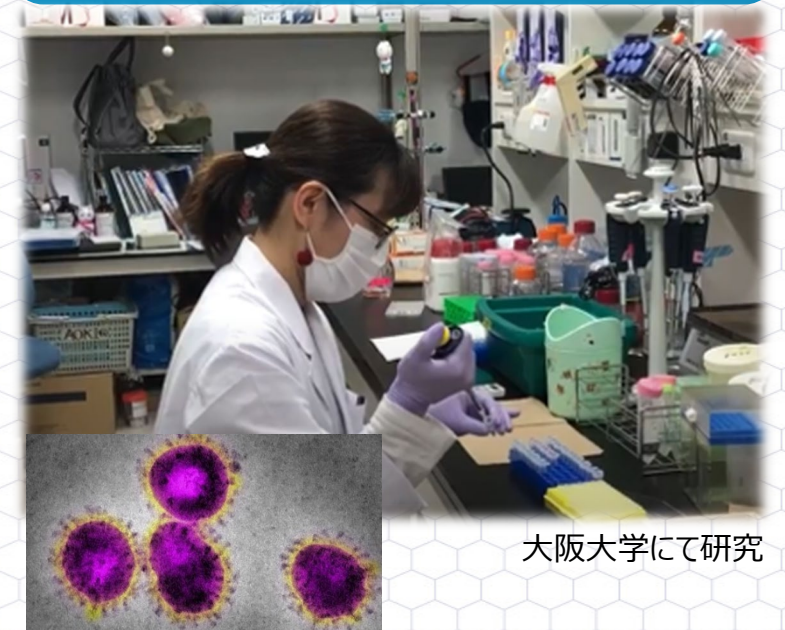


遺伝子治療用製品で培った プラスミドのノウハウ



大腸菌などの細菌に存在する環状のプラスミドDNA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。

新型コロナウイルス DNAワクチン開発

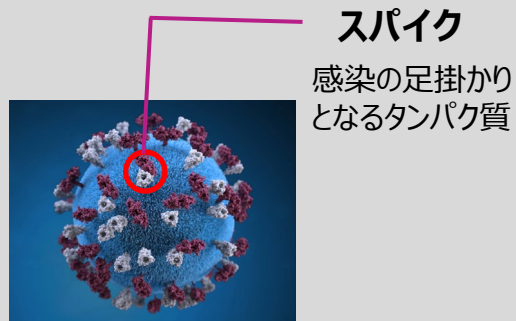


大阪大学にて研究

WHOホームページより引用

“新型コロナウイルス”ワクチン開発について

ウイルスとは？

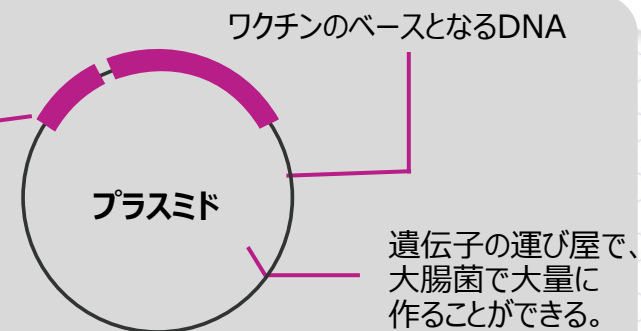
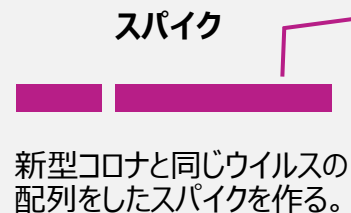


ウイルスイメージ

体内でウイルスと受容体が結合すると、ウイルスが細胞に侵入し、感染する

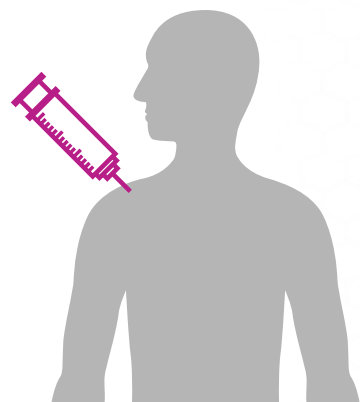


DNAワクチンとは？

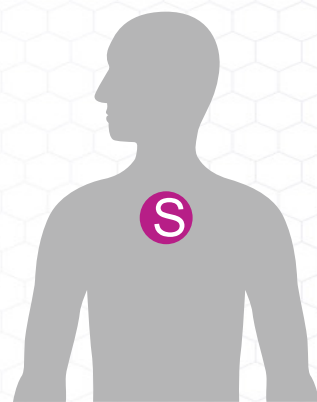


中身が空っぽで無害なスパイクだけが付いているDNA。スパイクだけだと何の作用も働かない。

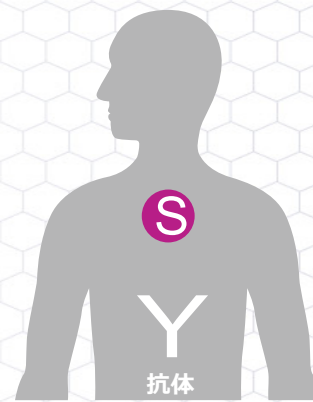
ワクチンの仕組み：スパイクだけを体内に発現させ抗体を作るためのもの



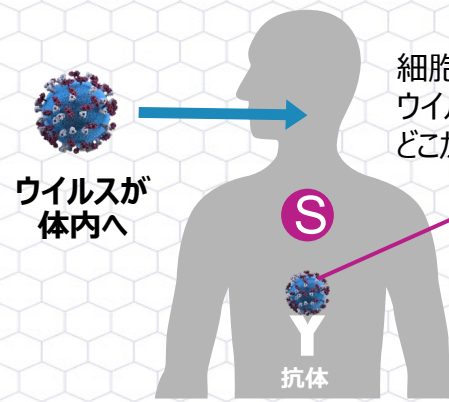
ワクチンを接種



スパイクを発現



細胞が抗体を作る
無害のスパイクに対して、抗体ができるので抵抗力ができる

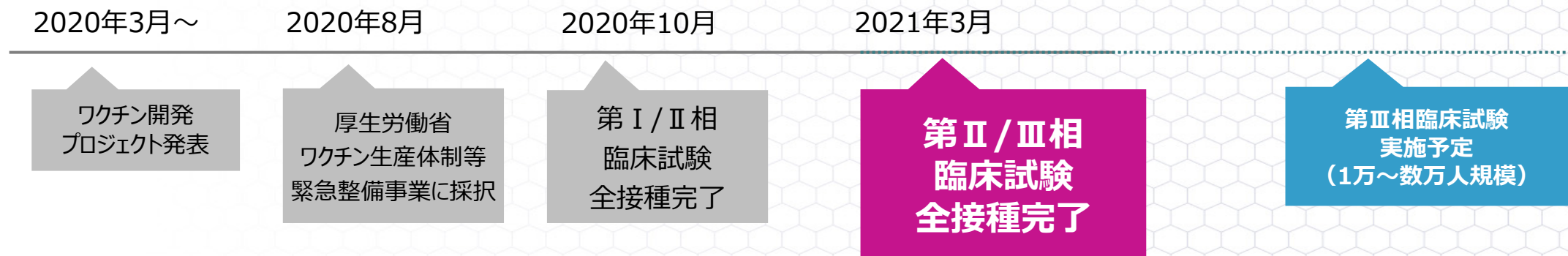


ウイルスのスパイクと抗体が結合するので、細胞の受容体と結合ができない

抗体があるので、ウイルスが体内に入ってきてても細胞に到着する前に抗体がウイルスを捕まえる。

細胞の中に入らない限りウイルスは生き残らないので、どこかへ行ってしまう

第Ⅰ/Ⅱ相 および 第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験 全接種完了



第Ⅲ相臨床試験
実施予定
(1万～数万人規模)

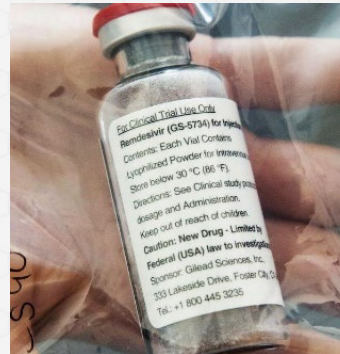
対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	第Ⅰ/Ⅱ相 臨床試験全接種完了(2020年10月)、第Ⅱ/Ⅲ相 臨床試験全接種完了(2021年3月) 

- 2021年3月 : 第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験全接種完了。
- 2020年10月 : 第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験全接種完了。
- 2020年3月 : 大阪大学と共同でコロナウイルスの予防用DNAワクチン開発を開始。
ワクチンの原薬完成、非臨床試験開始。

COVID-19治療薬（AV-001）

COVID-19治療薬とは

AV-001は、
カナダのバイオ医薬品企業である**Vasomune社と共同開発**を進めている、Tie2受容体アゴニスト。
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を対象とした医薬品として共同開発を実施中。

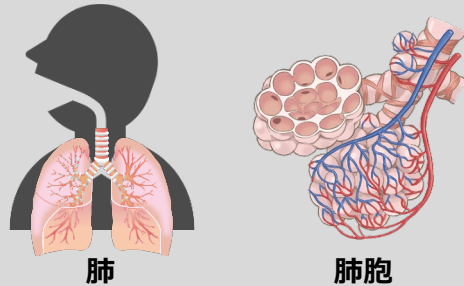


これがAV-001で、**中等度から重度のCOVID-19肺炎患者の治療薬**として、
2020年より米国で臨床試験を開始。

“新型コロナウイルス”治療薬開発について

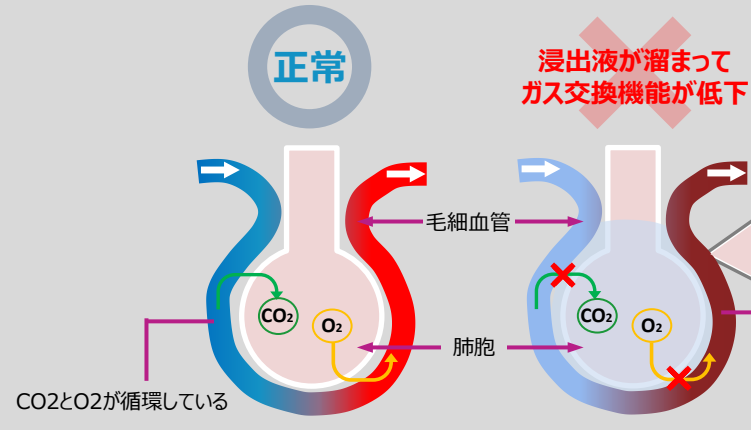
コロナウイルスによる急性肺障害とは？

肺の85%を占める肺胞では
血液とガス交換を行っていて、
肺胞でガス交換ができなくなってしまうと、
呼吸が苦しくなってしまいます。



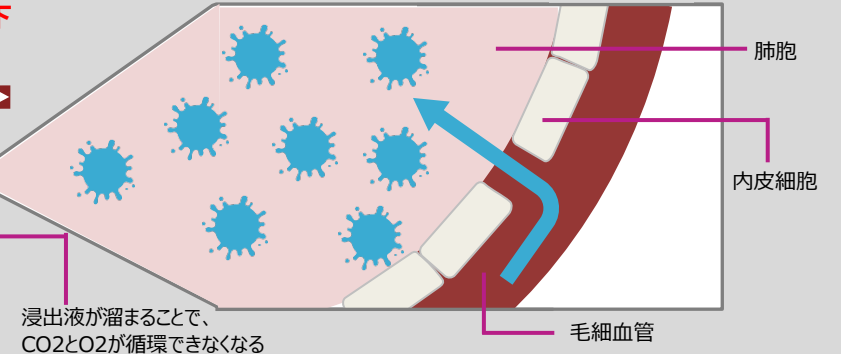
肺胞の拡大図

肺胞におけるガス交換の比較図



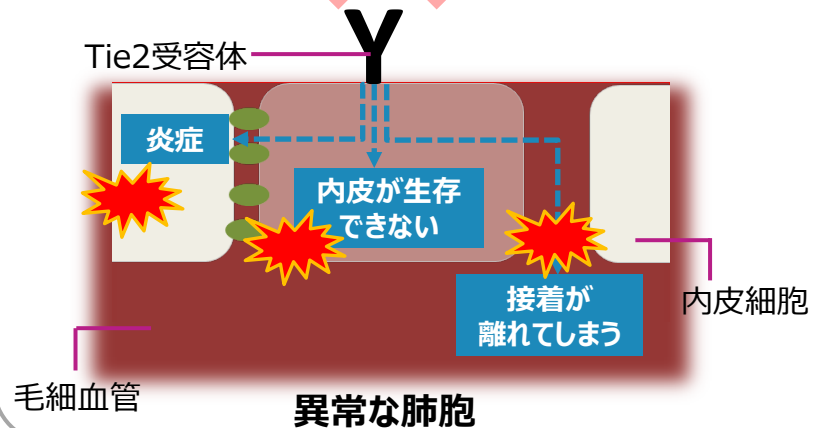
肺胞のさらなる拡大図

内皮細胞が離れてしまうことにより、
肺胞に**浸出液**が入り込んでしまう。

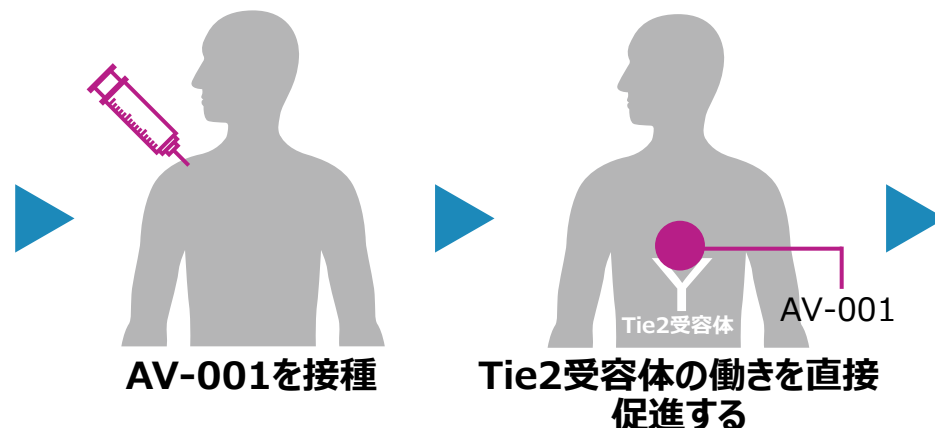


AV-001のメカニズム

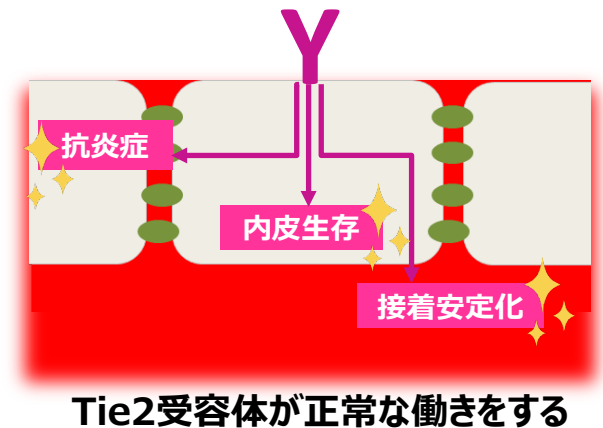
Tie2受容体の働きが抑制されることにより、
内皮細胞が離れてしまい、
肺胞に浸出液が入ってしまう



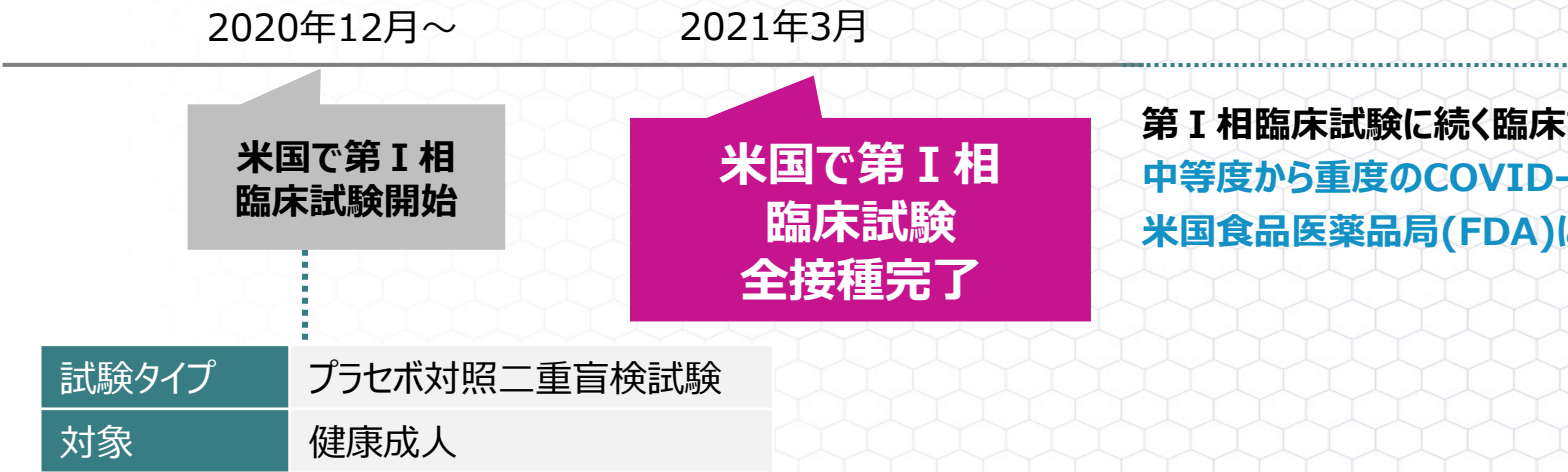
AV-001を投与することにより、
Tie2受容体の働きを正常な状態に戻す



AV-001により、
Tie2受容体の働きが正常になる



米国での第 I 相臨床試験 全接種完了



対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	Tie2受容体アゴニスト化合物（COVID-19治療薬）「AV-001」 米国での第 I 相臨床試験の全接種完了



- 2021年3月 : COVID-19治療薬AV-001 : 米国で第 I 相臨床試験全接種完了。
Vasomune社がCOVID-19治療薬「AV-001」開発でカナダ政府から助成金を獲得。
- 2020年12月 : COVID-19治療薬AV-001 : 米国で第 I 相臨床試験開始。
第 I 相臨床試験ではAV-001の安全性と忍容性を確認。
- 2018年7月 : バソミューン・セラピューティクス社（カナダ）と「AV-001」共同開発を開始。
対象疾患 : 急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患

【最新トピック②】 Emendo社の子会社化

先進のゲノム編集技術を有する、
米国のEmendo Biotherapeuticsを買収
(2020年12月15日 (火) クロージング)



買収合意の締結に関して

2020年11月9日

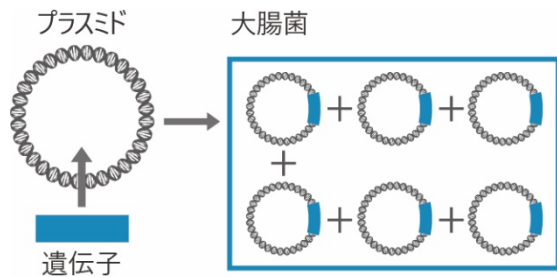


* 2020年11月9日 Emendo社買収合意の締結 記者説明会の様子

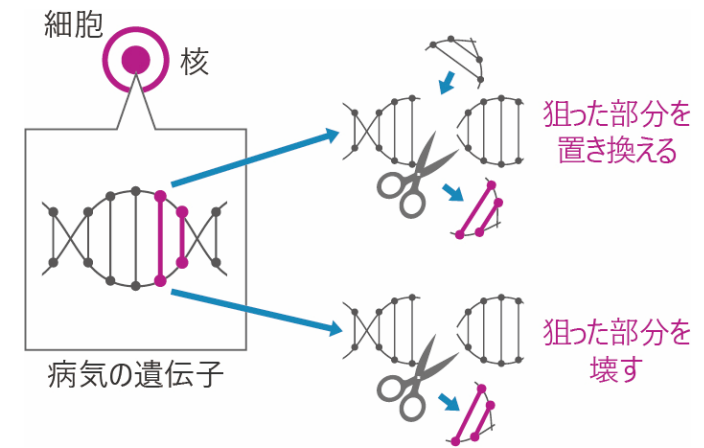
遺伝子治療の次のパラダイムシフト

ゲノム編集

プラスミドDNA



ウイルスベクター



ゲノム編集は
究極の遺伝子治療！

**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。**

★CRISPR-Cas9 クリスピーカスナイン

(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats
/ CRISPR-Associated Proteins 9)

→2012年、

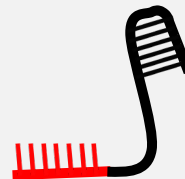
これまでの技術より、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革新的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。



②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③誘導された場所の
特定の場所を切り取る。
ヌクレアーゼ（酵素）



2020年ノーベル化学賞を受賞し、世界中で注目されている技術であり、
ゲノム編集のヒトへの適用が待ち望まれています。

Emendo Biotherapeutics



ゲノム編集の能力を拡大することを目的として設立されました。

合成生物学を駆使して、ゲノム編集の領域で対応できる適応症を拡大し、
いままで治療不可能であった疾患を治療することを目指しています。（エメンド社ウェブサイトより）

本社	400 W 61st St, #2330 New York, NY USA
CEO	David Baram
設立	2015年12月
資本金及び資本準備金	37,425千米ドル（約3,929百万円）
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 Biotherapeutics

買収の目的



**既存の治療法ではアプローチできなかった、
多くの適応症に対応できるゲノム編集技術の獲得**

**遺伝子治療プログラムとゲノム編集プラットフォーム技術を
融合して、グローバルマーケットを狙う企業になる**

**双方の経験を活用し、
いち早くゲノム編集のヒトへの実用化を目指す**

Emendo Biotherapeutics

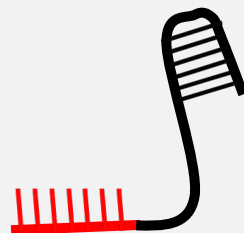
独自のヌクレアーゼを確立

①塩基配列を読み取る。

ATGCTTAAGCT
TACGAATTCGA

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③より精度高く、誘導された場所の特定の場所を切り取る。

独自のヌクレアーゼ（酵素）

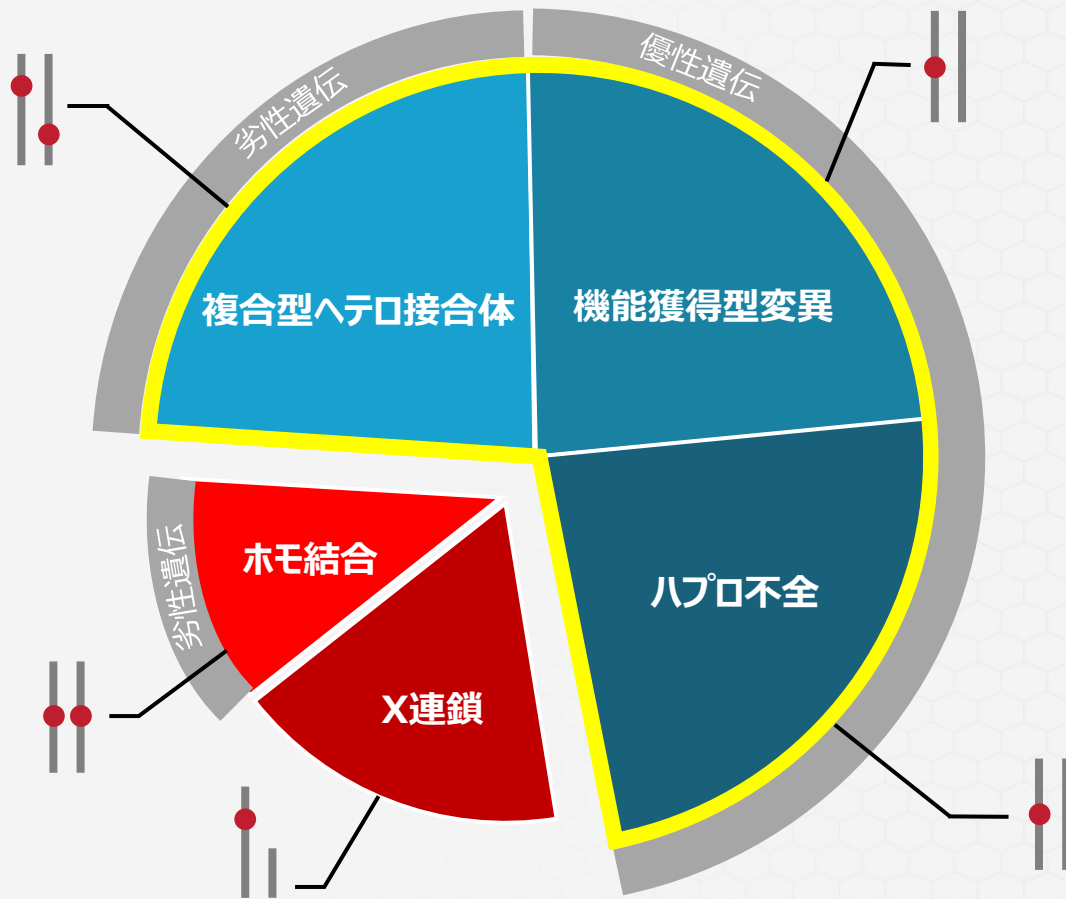


独自の開発プラットフォームを確立

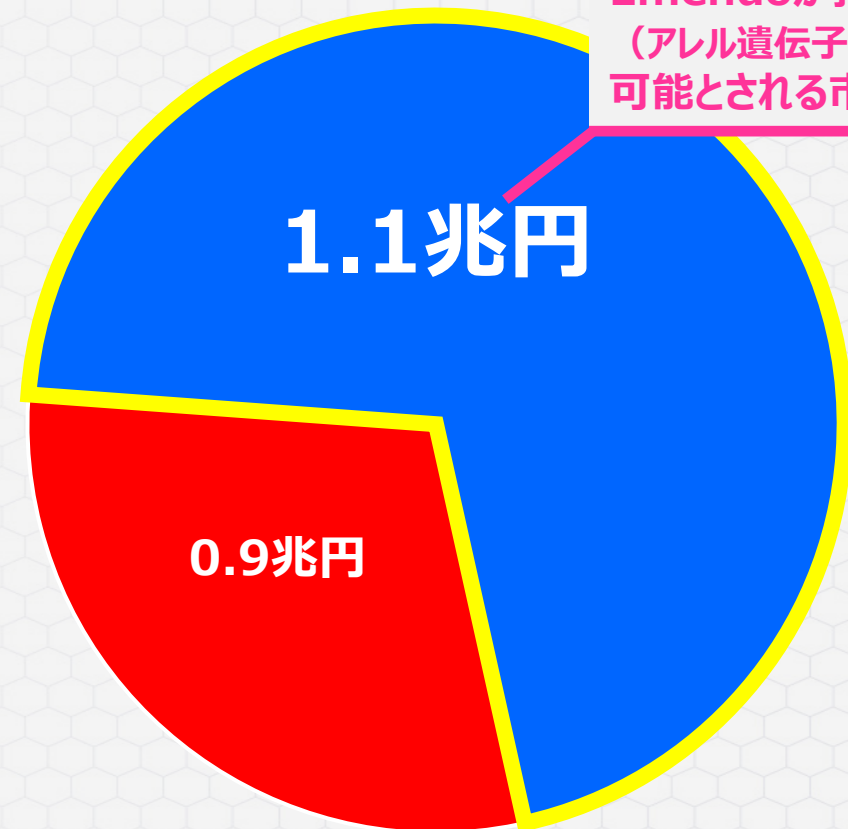
CRISPR - OMNI™ nuclease

Emendo Biotherapeuticsの技術で 治療可能な適応症と見込まれる市場規模

遺伝子疾患



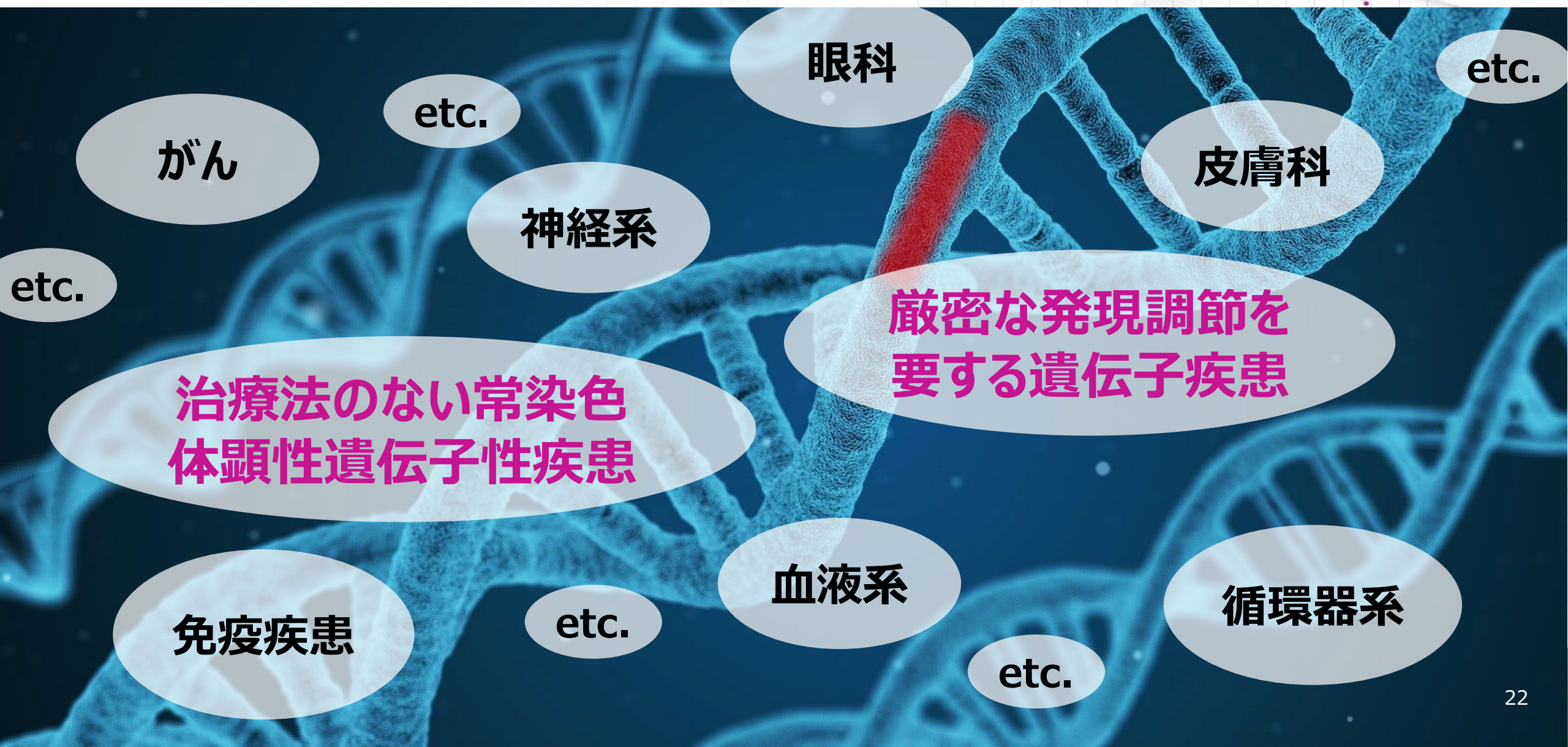
市場規模



Emendoが持つゲノム編集技術
(アレル遺伝子特異的ゲノム編集)で
可能とされる市場

※エメンド社調べ

今後考えられる適応症



Emendo Biotherapeuticsを 買収したことで、

アンジェスは、
ゲノム編集の技術の
IP（特許）を保有することになる。
自社創薬の領域が広がる。

アンジェスの
遺伝子治療薬上市実績から
ゲノム編集技術のヒトへの
適用により近づく。



日本初の遺伝子創薬企業アンジェスは、
米国を含むグローバルでの事業展開を加えることで、
世界的な遺伝子医薬企業となり、
遺伝子治療プログラムと
次世代ゲノム編集プラットフォーム技術を有する
世界初の企業となります。

【最新トピック③】 資金調達について

今回の資金調達について

第41回新株予約権（第三者割当）

幅広い医薬品開発でグローバルに貢献するために、
当社普通株式の長期保有の意向を示す
海外の機関投資家に限定した資金調達を実施



期待できること

- 1 海外の機関投資家による安定的な当社への投資**
- 2 グローバル市場、主に米国において当社のプレゼンスが上がる**

アンジェスの世界展開

トルコ

- HGF遺伝子治療用製品【Er-Kim社】

日本

- HGF遺伝子治療用製品
- 新型コロナウイルスDNAワクチン

米国

- HGF遺伝子治療用製品
- NF-κBデコイオリゴDNA
- COVID19治療薬
- ゲノム編集技術【Emendo社】

オーストラリア

- 高血圧DNAワクチン

イスラエル

- HGF遺伝子治療用製品【Kamada社】
- マイクロバイオーム事業【MyBiotics社】
- 診断事業（抗がん剤）【Barcode社】

【全世界】

- 急性呼吸窮迫症候群(ARDS)の治療薬

持続可能な開発目標 (SDGs)

SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS



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の開発・実用化を通じて、
人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する。



保健【健康的な生活の確保】

世界中すべての人が適切な予防、そして治療が受けられるように、医療に関する研究開発への積極的な支援や、質が高く安価な医薬品が世界中に行き届くような体制を整えることが大切。

SUSTAINABLE
DEVELOPMENT GOALS

希少疾患とは？

通常、糖尿病や心疾患などの、より一般的な疾患と比較して

患者数が極めて少ない疾患と定義され、多様性のある疾患群をいう。

希少疾患は重度で慢性的な症状である傾向があり、多くの場合、進行性かつ衰弱性で生命を脅かす疾患である。

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

希少疾患の患者数はどれくらいか？



世界全体で
3億5,000万人

希少疾患の原因は何か？



希少疾患の
80%は遺伝性

希少疾患の種類はどれくらいか？



希少疾患は
5,000～8,000種類

表 - 希少疾患と定義される国別の有病率（人口当たりの患者数）

米国	EU	日本	シンガポール	ロシア	オーストラリア
					
10,000人当たり 7.5人 (患者数200,000人未満)	10,000人当たり 5人	2,500人当たり 1人	100,000人当たり 約37人 (患者数：20,000人未満)	10,000人当たり 1人	10,000人当たり 1人 (患者数：年間2,000人未満)

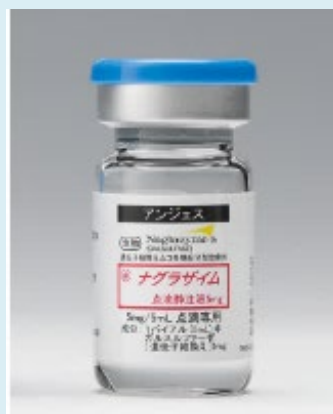
私たちの希少疾患への取り組み

1999年

2008年 ~ 2019年

2019年~

ムコ多糖症VI型治療薬 「ナグラザイム®」の販売



慢性動脈閉塞症 遺伝子治療用製品「コラテジェン®」



2019年にバイオマリン社日本法人に事業承継

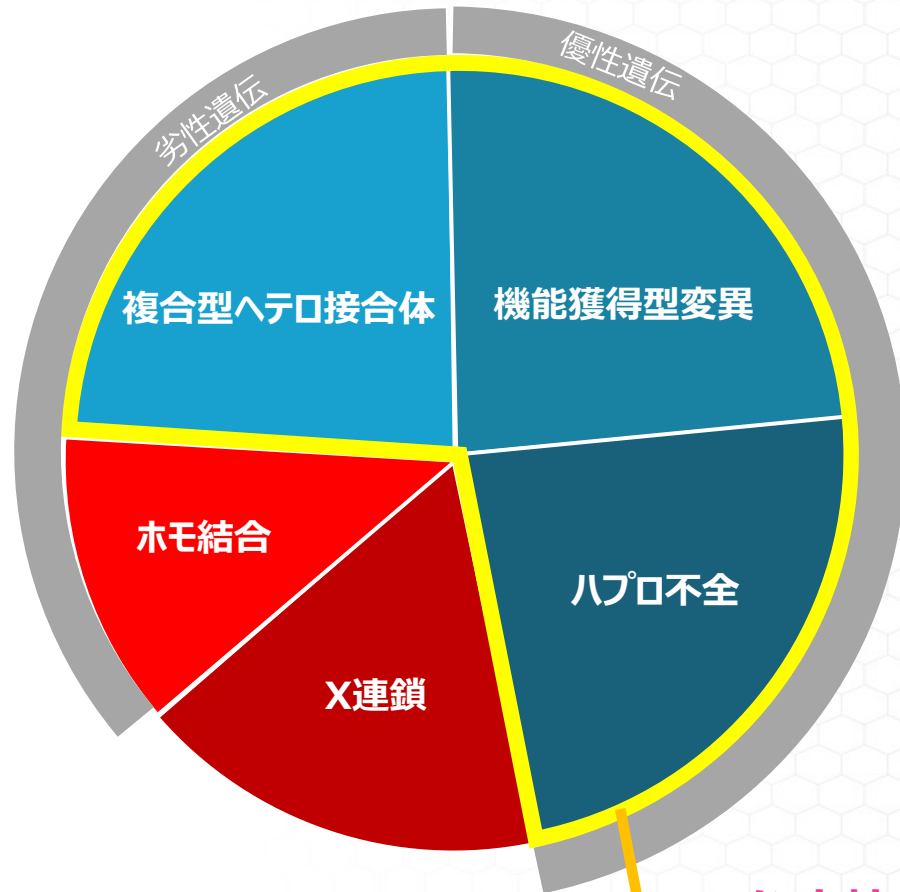
今後、薬効拡大していくことで、
さらなる希少疾患へのアプローチも視野に！



そして、2021年

Emendo Biotherapeuticsの技術があれば、 全ての遺伝子疾患に対するアプローチが可能となる

遺伝子疾患



希少疾患の患者数は
世界全体で3億5,000万人



希少疾患の原因の
80%は遺伝性



希少疾患の種類は
5,000～8,000種類

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

エメンド社の技術は、今まで治療できなかった遺伝病までも
治療できる可能性がある！

遺伝性希少疾患の解決実現を目指して

1

グローバル基準でのガバナンス体制へ

2

さらなる希少疾患への研究・開発プロジェクト化

SUSTAINABLE
DEVELOPMENT GOALS

【最新トピック④】 椎間板性腰痛症を対象とした医薬品の開発状況ご報告

NF- κ B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- κ Bに対する特異的な阻害剤。
NF- κ B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。

次世代型デコイを開発中。

▶ 椎間板性腰痛症

▶ キメラデコイ

米国での後期第 I 相臨床試験の患者投与完了 経過観察後の試験結果を発表（安全性・有効性を確認）



対象疾患	椎間板性腰痛症
開発状況	米国で後期第 I 相臨床試験で25例の患者投与が完了（2020年2月）。試験結果を公表（安全性・有効性を確認） NEW

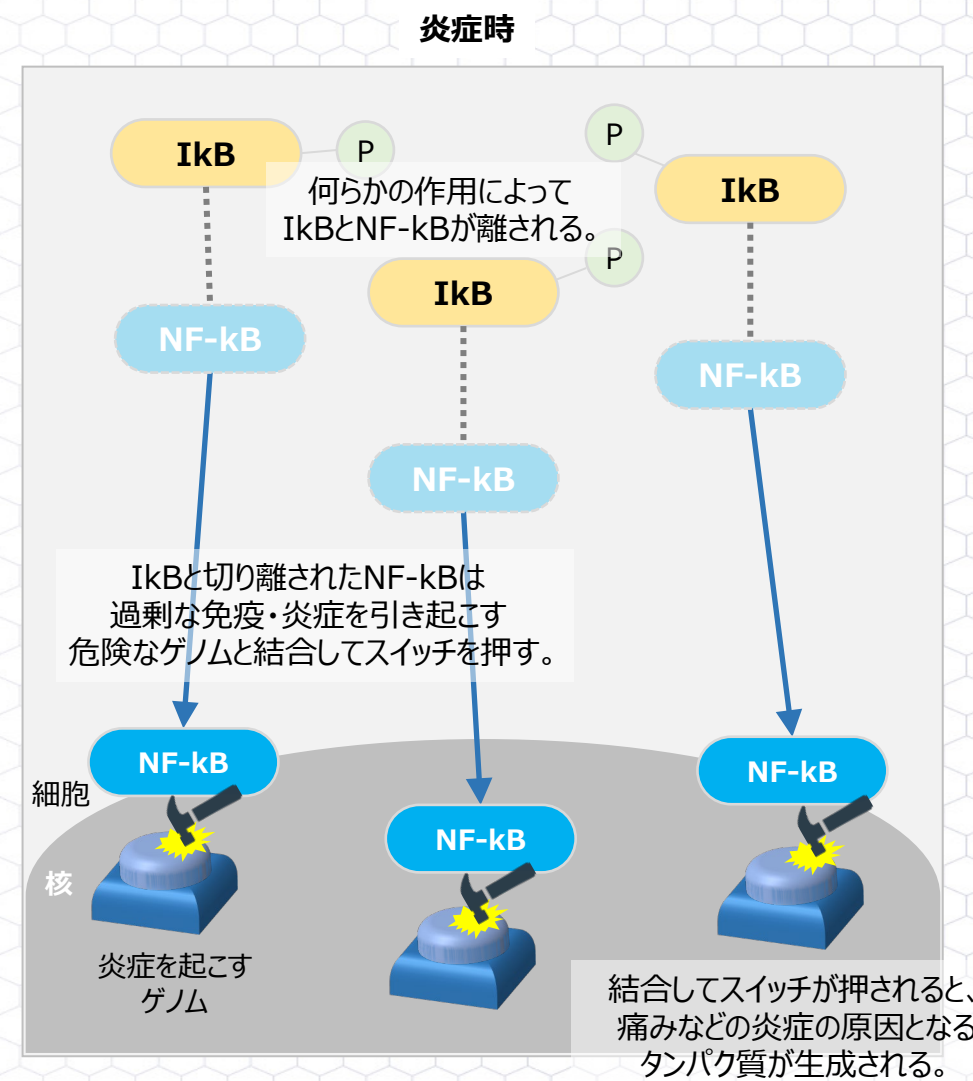
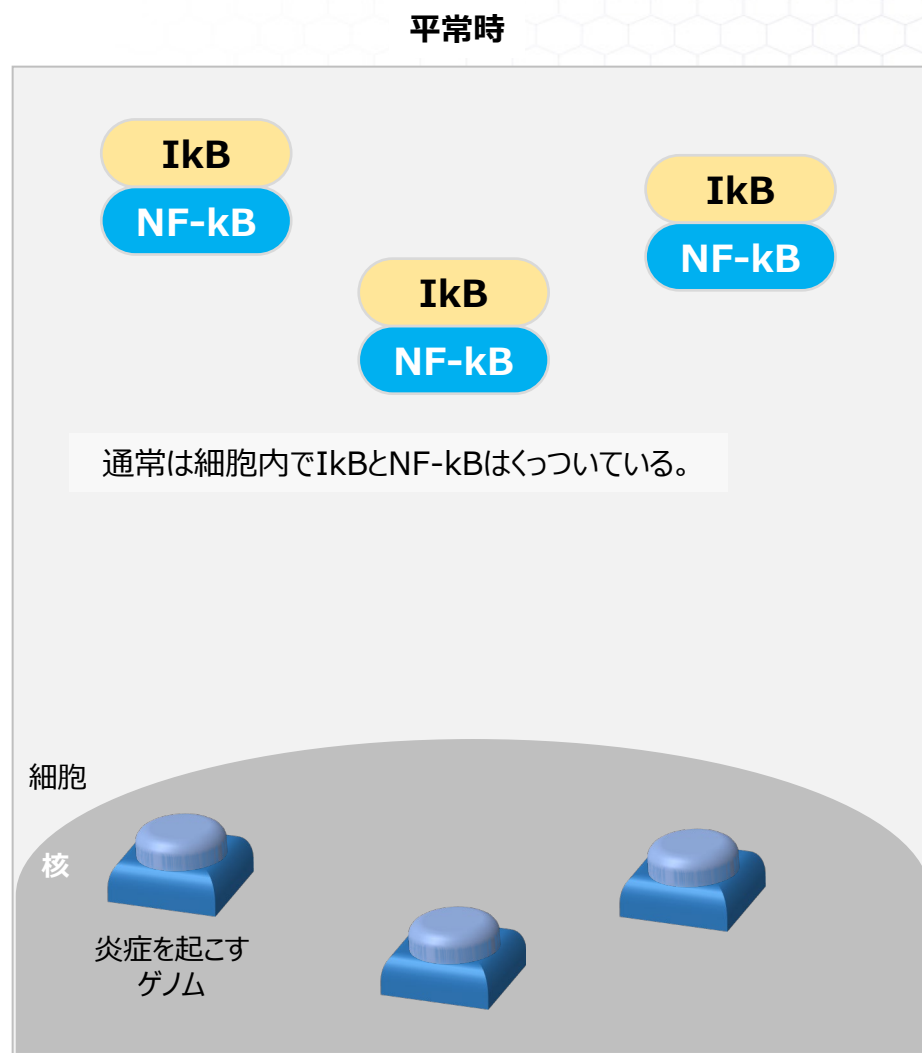
2021年2月：後期第 I 相臨床試験の試験結果（観察期間6か月間）を発表。
2020年2月：25例の患者投与が完了。
2018年2月：米国にて後期第 I 相臨床試験を開始。
※米国を含め世界での市場規模が大きい。
※米国では椎間板内注射による治療は一般的でこの手技に習熟している医師は多く、また患者数も多い。

**アンジェスでは、椎間板性腰痛症を対象疾患とした、
NF- κ Bデコイオリゴの開発を進めています。**

NF- κ Bは炎症や免疫が活性化する時、活性酸素などによる酸化ストレスなどの刺激が外部から与えられた時に、細胞が炎症反応や免疫反応を引き起こすために活性化する主要な転写因子です。
過剰な活性化は、アトピー性皮膚炎や喘息などのアレルギー・免疫関連の疾患を悪化させることが指摘されています。

NF- κ Bデコイオリゴに関する説明は、次頁以降のイラストを使用して説明いたします。

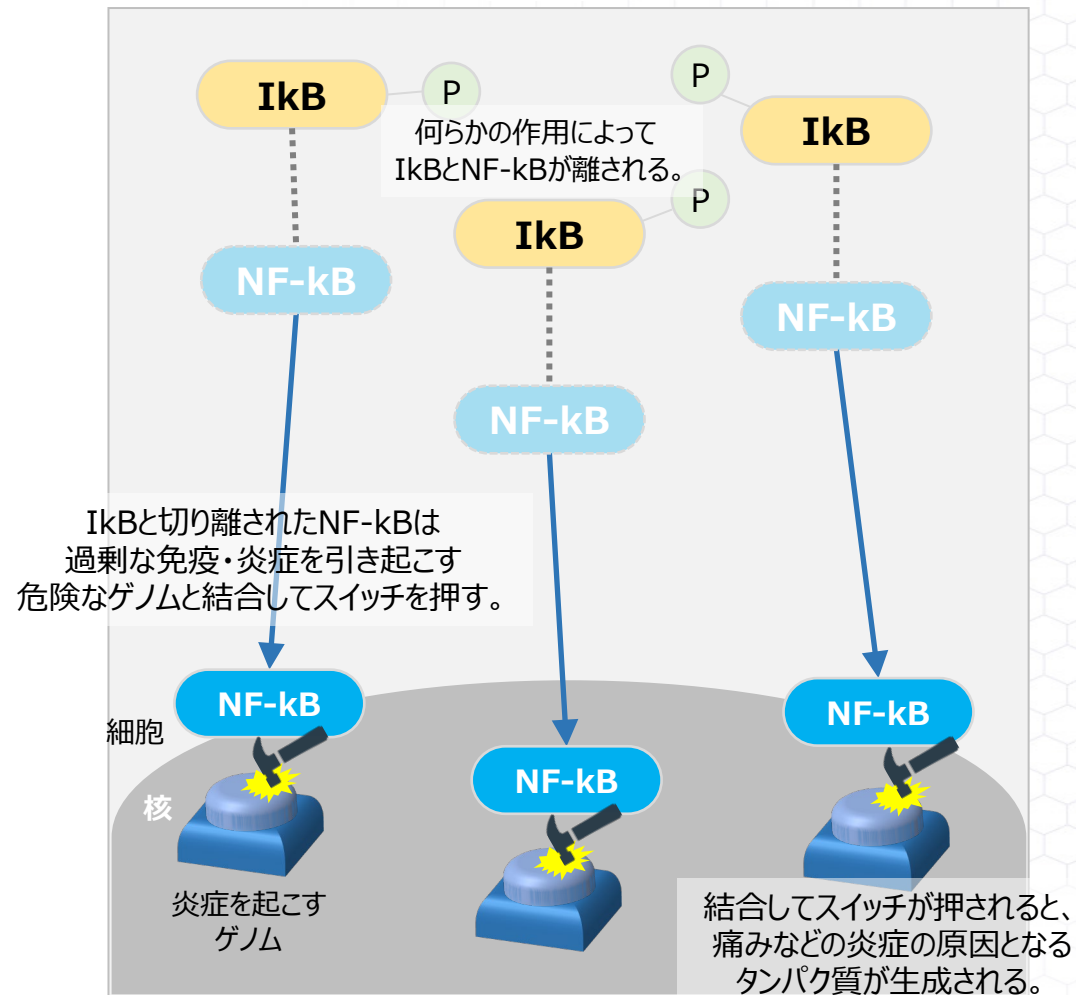
遺伝子が発現する際、転写因子と呼ばれる蛋白質（NF- κ B）がゲノムの特定の配列領域（プロモーター）に結合してスイッチが入ることによって痛みなどの炎症の原因となる蛋白質が生成されます。



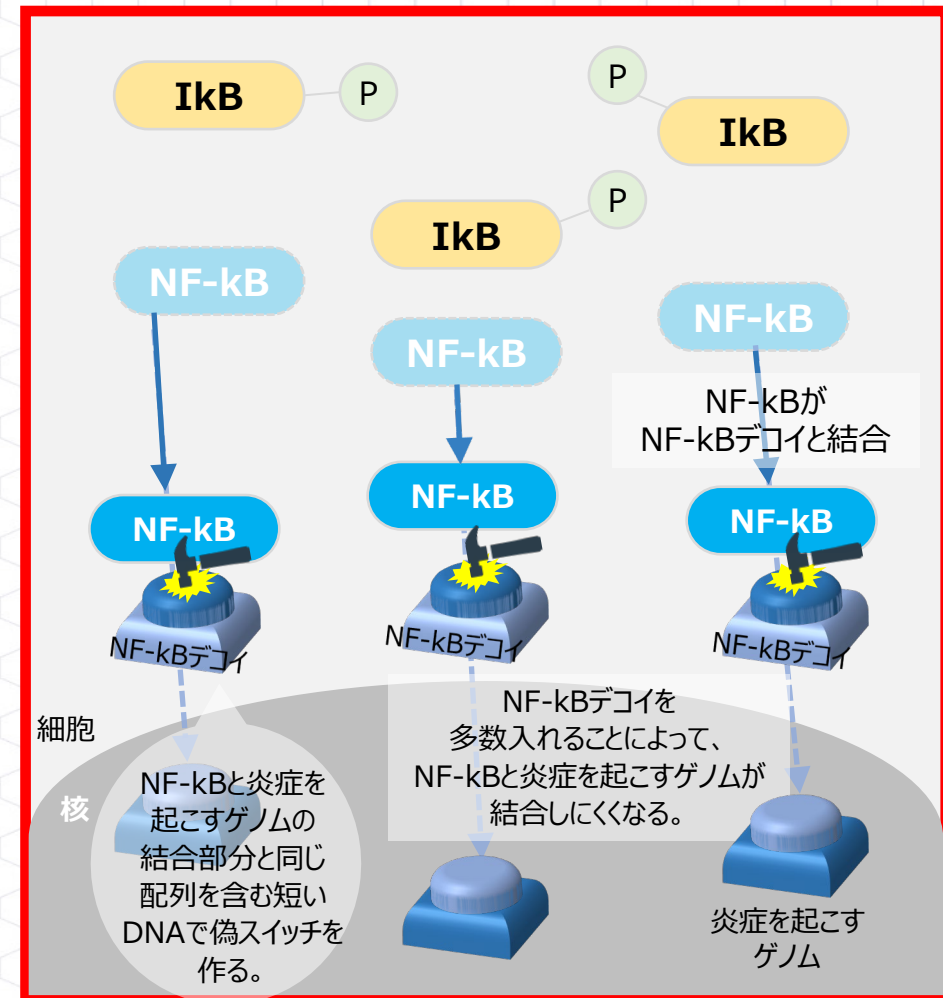
「おとり（＝デコイ）」として「NF-κBデコイ」を人工的に設計し、体内に多数入れることによって転写因子「NF-κB」と炎症を起こすゲノム（プロモーター）が過剰に結合されなくなります。

そうすると、炎症の起きるゲノムのスイッチが押されにくくなり、痛みが出る遺伝子の発現が抑制されるので、結果として痛みを軽減することができます。

炎症時



NF-κBデコイを導入



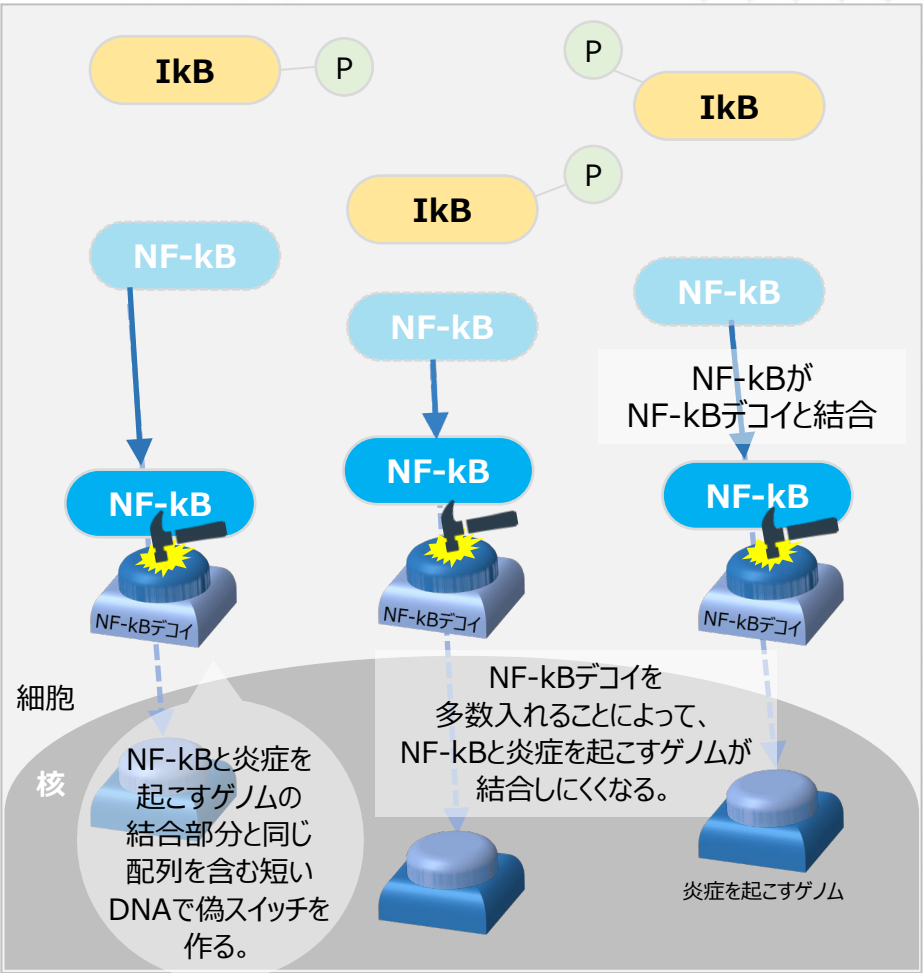
「STAT6」とは、遺伝子の発現の制御を担う転写因子です。

STAT6の過剰な活性化は、アトピー性皮膚炎や喘息などのアレルギー・免疫関連の疾患を悪化させることが指摘されています。

次世代キメラデコイは「STAT6」と「NF-κB」という炎症を引き起こす2つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持った「おとり」のことを言います。

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ています。

NF-κBデコイを導入



キメラデコイを導入

