



2019年3月18日

各位

会社名 アンジェス株式会社  
代表者名 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 経営企画部長 鈴木 一夫  
電話番号 03-5730-2641

### Emendo Biotherapeutics 社への投資について

当社は、本日開催の取締役会においてイスラエルを拠点とする米国のバイオ企業 Emendo Biotherapeutics 社（以下 Emendo 社）への投資について決議いたしましたのでお知らせいたします。

Emendo 社では、現在ゲノム編集で課題となっている「オフターゲット効果」の低減化を含む、新たなゲノム編集の技術開発を行っており、同社が有するより安全性の高いゲノム編集技術を活用することによって、遺伝子治療開発の分野での優位性を獲得したいと考えております。

ゲノム編集では、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断することによって、標的とする遺伝子を改変しますが、類似の部位を誤って切断してしまうこと（オフターゲット効果）による標的以外の遺伝子の変化は、安全性上の大きな問題となっております。これを低減するには、出来るだけ類似の配列が存在しないターゲット配列を選んで標的とする努力が払われますが、Emendo 社では、これとは別に、ターゲット配列以外では DNA を切断することがない高精度な切断酵素の開発を行っております。これにより、安全性の高いゲノム編集が実現するのみでなく、類似した配列の制限を受けることなく、より自由に標的を選定できるようになることが期待できます。

当社では、臨床開発以降の段階にある自社プロジェクトとして、重症虚血肢を対象とした HGF 遺伝子治療用製品、椎間板性腰痛症を対象とした核酸医薬（NF- $\kappa$ B デコイオリゴ）、高血圧 DNA ワクチンの3つのプロジェクトを進めておりますが、今後の成長のため開発パイプラインのさらなる拡充を目指しております。今回の投資はそれに向けた新たな取り組みの一環であり、今後 Emendo 社との具体的な協力の可能性を検討してまいります。

なお、2019年12月期の業績への影響につきましては、他の要素も含め現在精査中であり、業績予想の修正が必要な場合には速やかに開示いたします。

以上

<ご参考>

Emend Biotherapeutics 社について

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月末現在）
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飾、除去することができるゲノム編集技術の開発

## 【用語の解説】

ゲノム編集：

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。DNA 切断酵素としては、ZFN（ジンクフィンガーヌクレアーゼ）、TALEN（ターレン）、CRISPR/Cas9（クリスパー・キャスナイン）が知られている。Emendo 社で扱うのは CRISPER/Cas9 を用いる方法。CRISPR/Cas9 は、ガイド RNA と Cas9 タンパク質という 2 つの別々の分子で構成される。ターゲット配列は、標的部位となる DNA 配列と相補的な配列をもつガイド RNA によって規定され、Cas9 タンパク質はガイド RNA が規定する標的部位を特異的に切断する。