



## 2023年12月期 第3四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

2023年11月8日  
東

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所  
 コード番号 4563 URL <https://www.anges.co.jp/>  
 代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 山田 英  
 問合せ先責任者 (役職名) 経理部長 (氏名) 櫻井 純 (TEL) —  
 四半期報告書提出予定日 2023年11月13日 配当支払開始予定日 —  
 四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無  
 四半期決算説明会開催の有無 : 無

(百万円未満切捨て)

## 1. 2023年12月期第3四半期の連結業績(2023年1月1日～2023年9月30日)

## (1) 連結経営成績(累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2023年12月期第3四半期	102	123.6	△9,207	—	△4,720	—	△4,798	—
2022年12月期第3四半期	45	3.1	△12,455	—	△10,062	—	△10,194	—

(注) 包括利益 2023年12月期第3四半期 △3,220百万円(—%) 2022年12月期第3四半期 △5,803百万円(—%)

	1株当たり 四半期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益
	円 銭	円 銭
2023年12月期第3四半期	△25.69	—
2022年12月期第3四半期	△66.60	—

(注) 当社では、四半期連結損益計算書において事業収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

## (2) 連結財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2023年12月期第3四半期	34,852	28,899	82.6
2022年12月期	38,820	30,425	78.1

(参考) 自己資本 2023年12月期第3四半期 28,803百万円 2022年12月期 30,324百万円

## 2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2022年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2023年12月期	—	0.00	—	—	—
2023年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

## 3. 2023年12月期の連結業績予想(2023年1月1日～2023年12月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する当期純利益		1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	190	183.3	△13,500	—	△7,500	—	△7,500	—	△39.78

(注) 直近に公表されている業績予想からの修正の有無 : 無

(注) 当社では、連結損益計算書において事業収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

※ 注記事項

- (1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動 : 無
- (2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無
- (3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示
- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 有
  - ② ①以外の会計方針の変更 : 無
  - ③ 会計上の見積りの変更 : 無
  - ④ 修正再表示 : 無

(4) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む）	2023年12月期3Q	193,885,300株	2022年12月期	178,623,900株
② 期末自己株式数	2023年12月期3Q	92株	2022年12月期	92株
③ 期中平均株式数（四半期累計）	2023年12月期3Q	186,740,724株	2022年12月期3Q	153,073,292株

※ 四半期決算短信は公認会計士又は監査法人の四半期レビューの対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P.6「1. 当四半期決算に関する定性的情報（4）連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報	2
(1) 経営成績に関する説明	2
(2) 財政状態に関する説明	3
(3) 研究開発活動に関する説明	3
(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明	6
2. 四半期連結財務諸表及び主な注記	7
(1) 四半期連結貸借対照表	7
(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書	9
(3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項	11
(継続企業の前提に関する注記)	11
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	13
(会計方針の変更)	13
(重要な後発事象)	13
3. その他	14
継続企業の前提に関する重要事象等	14

## 1. 当四半期決算に関する定性的情報

### (1) 経営成績に関する説明

当社グループ(当社及び連結子会社3社)は、遺伝子の働きを利用した「遺伝子医薬」の開発、実用化を目指し、研究開発を行う創薬系のバイオベンチャーです。遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して、自社における医薬品の開発及び開発パイプラインの拡充のための国内外企業との共同開発、業務提携、資本参加等を積極的に行っています。

当第3四半期連結累計期間の事業収益は前年同期に比べ56百万円増加し1億2百万円(前年同期比123.6%増)となりました。当社グループでは、HGF遺伝子治療用製品コラテジェンの条件及び期限付製造販売の承認を取得し、2019年9月から田辺三菱製薬株式会社(以下「田辺三菱製薬」といいます。)より販売しております。2023年5月31日に条件解除に向けた製造販売承認申請を提出いたしました。当第3四半期連結累計期間においては、これまで同様、複数診療科で重症下肢虚血の治療を行っている専門医のいる病院のみでの使用となっていることから、製品売上高は15百万円(同7百万円の増加)となっております。一方、アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(以下「ACRL」といいます。)においては、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会(以下「CReARID」といいます。)が展開する拡大新生児スクリーニングである「オプションスクリーニング」を受託しており、前年同期に比べ受託数が順調に増加していることから手数料収入として73百万円(同35百万円の増加)を計上いたしました。ACRLでは、今年7月には拡大新生児スクリーニングの問い合わせ窓口を開設し、来期から各地の自治体や関係機関からの新たな受託を目指しております。また、当社連結子会社EmendoBio, Inc.(以下「Emendo社」といいます。)においてOMNI Platform技術に関する売上を、研究開発事業収益として13百万円計上しております。

当第3四半期連結累計期間における事業費用は、前年同期に比べ31億90百万円減少し、93億10百万円(同25.5%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ17百万円増加し、90百万円(同23.2%増)となりました。当第3四半期連結累計期間におけるコラテジェンの製品売上原価は前年同期より9百万円減少し、14百万円となりました。コラテジェンの製品売上高は増加いたしました。前年同期に使用期限切れによる廃棄が見込まれる製品の評価損を計上しております。当期において、製品評価損が減少したことにより、製品売上原価が減少しております。ACRLにおけるオプションスクリーニングにかかる原価は、新規検査機器購入による減価償却額等の計上により前年同期に比べ26百万円増加し、76百万円(同52.4%増)となっております。

研究開発費は、前年同期に比べ36億88百万円減少し、48億39百万円(同43.3%減)となりました。2020年度よりプラスミドDNAの技術を用いた新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチンの開発を開始し、臨床試験及び非臨床試験を実施してはいたしましたが、昨年度にこれまでのワクチン開発の中止を決定しております。これにより研究用材料費が6億1百万円、外注費が34億95百万円減少しております。

当社グループのような研究開発型バイオベンチャー企業は先行投資が続きますが、提携戦略などにより財務リスクの低減を図りながら、今後も研究開発投資を行っていく予定です。研究開発の詳細については、本決算短信「(3) 研究開発活動に関する説明」をご参照ください。

販売費及び一般管理費は前年同期に比べ4億80百万円増加し、43億80百万円(同12.3%増)となりました。為替の円安に伴い、Emendo社買収に伴うのれん償却額が前年同期より1億64百万円増加しております。Emendo社における弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬が増加したため、支払手数料が前年同期より2億83百万円増加しております。

この結果、当第3四半期連結累計期間の営業損失は92億7百万円(前年同期の営業損失は124億55百万円)となりました。

営業外収支は、外貨預金及びEmendo社への貸付金の評価替を行った結果、円安による為替変動の影響により、為替差益が15億62百万円発生しております(前年同期は20億15百万円の為替差益)。補助金収入は29億21百万円となりました(前年同期の補助金収入は3億69百万円)。国立研究開発法人日本医療研究開発機構(以下「AMED」といいます。)より採択された「新型コロナウイルス(COVID-19)を標的としたDNAワクチン臨床開発」に関する助成金について、すでに入金され前受金に計上してはいたしましたが、当連結会計期間において確定検査結果通知を受領したことから、28億15百万円を補助金収入に計上しております(前年同期は1億18百万円)。Vasomune Therapeutics, Inc.(以下「Vasomune社」といいます。)が米国及びカナダにおいて獲得した助成金について、当社開発費負担分に応じて1億6百万円を受領し、補助金収入に計上しております(前年同期は2億51百万円)。

この結果、当第3四半期連結累計期間の経常損失は47億20百万円(前年同期の経常損失は100億62百万円)となりま

した。

当第3四半期連結累計期間の親会社株主に帰属する四半期純損失は47億98百万円(前年同期の親会社株主に帰属する四半期純損失は101億94百万円)となりました。当期法人税等を75百万円計上しております(前年同期は21百万円)。

尚、既に報道されているとおり、パレスチナのイスラム組織ハマスが10月7日、ロケット弾の発射や戦闘員の侵入によってイスラエルへの大規模な攻撃を仕掛けました。その後、イスラエルによるガザ地区への軍事行動も拡大しつつあり、事態が深刻化しております。このような状況において、Emendo社はイスラエル中部のテルアビブ近郊に研究施設を有しておりますが、現時点で従業員の安否や社屋への被害等重大な影響は報告されておりません。しかしながら、イスラエルとパレスチナにおけるさらなる紛争拡大の影響が懸念され、今後の研究開発活動遅延の可能性も視野に入れて経営を進めてまいります。

## (2) 財政状態に関する説明

当第3四半期連結会計期間末の総資産は前連結会計年度末に比べ39億68百万円減少し、348億52百万円となりました。

流動資産は49億64百万円減少し、79億31百万円となっております。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権及び2023年7月12日に発行したBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権についてその一部が行使され、16億96百万円を調達いたしました。現金及び預金は当期事業費用等の支払いにより50億77百万円減少し、59億58百万円となりました。コラテジェンの販売用製品を製造したことにより、製品が99百万円増加しております。コラテジェンの原薬を製造したことにより、原材料及び貯蔵品が4億23百万円増加して14億28百万円となりました。前年度の消費税が還付されたことにより、未収消費税等が3億92百万円減少しております。

当第3四半期連結会計期間末の固定資産は9億96百万円増加し、269億20百万円となっております。円安による為替変動の影響により、Emendo社における使用権資産の円換算額が1億11百万円増加しております。のれんが前連結会計年度末に比べ5億円増加して237億55百万円となりました。のれんの償却により22億71百万円減少しておりますが、円安による為替変動の影響により米ドル建のれんの円換算額が27億71百万円増加しました。主にVasomune社が発行する株式への出資により、投資有価証券が3億4百万円増加して12億26百万円となっております。

当第3四半期連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ24億42百万円減少し、59億52百万円となりました。主にAMEDからの助成金を補助金収入に振り替えたことにより、前受金が24億59百万円減少して33億4百万円となっております。なお、前受金に計上しております、厚生労働省より採択された「コロナワクチン生産体制等緊急整備事業」の助成金につきましては、確定検査結果通知を受領致しましたら、補助金収入に振替を行います。

当第3四半期連結会計期間末の純資産は前連結会計年度末に比べ15億25百万円減少し、288億99百万円となりました。第42回新株予約権及び第43回新株予約権の行使により、資本金及び資本剰余金がそれぞれ8億50百万円増加しております。親会社株主に帰属する四半期純損失47億98百万円を利益剰余金に計上しております。2023年3月30日開催の第24期定時株主総会において、資本金及び資本準備金の額の減少並びに剰余金の処分について決議し、資本金を11億25百万円減少、資本準備金を150億76百万円減少、繰越利益剰余金を162億2百万円増加させ、欠損の填補に充当いたしました。これにより、資本金は348億71百万円、資本剰余金は32億40百万円、利益剰余金は△157億46百万円となっております。主にのれんに係る為替変動の影響により、為替換算調整勘定が15億57百万円増加しております。新株予約権は5百万円減少して95百万円となっております。Cantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権について、その一部が行使されましたが、2023年4月24日に公表いたしましたとおり、未行使の新株予約権を取得し、消却しております。当第3四半期連結会計期間においてBofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権を発行しております。Emendo社において従業員に対しストックオプションを発行しております。

## (3) 研究開発活動に関する説明

当第3四半期連結累計期間における研究開発費は前年同期に比べ36億88百万円減少し、48億39百万円(前年同期比43.3%減)となりました。

当社グループは、“遺伝子医薬のグローバルリーダー”を目指し、遺伝子医薬を中心に医薬品の開発、実用化に取り組んでおります。また、究極の遺伝子治療といわれるゲノム編集は、これまで治療の難しかった疾患を対象とした研究開発が進められていますが、当社グループのEmendo社は、独自のゲノム編集技術の開発を進めており、ゲノ

ム編集の分野でも難易度の高い技術を開発しております。

さらに当社は国内外の企業と積極的に提携し、有望な医薬品の実用化に向けて共同開発を進めております。

以下に、当社グループの開発品並びに当社提携先の開発状況についてご説明いたします。

## 当社の開発プロジェクト

### ■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	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	市販後 調査	承認審査	本承認
							第I相	第II相	承認審査				
HGF遺伝子治療用製品 (ベペルミノゲンペルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	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	実施中	審査中	

### ■通常の承認制度

プロジェクト	地域	導出先	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 (ベペルミノゲンペルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	後期 実施中	目標症例数投与完了 経過観察	完了	
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	完了	完了	審査中	
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	完了	完了	申請 準備中	
NF-κBデコイオリゴDNA	日本	—	注射剤	腰痛症	完了	完了	完了	実施中			
DNAワクチン	豪州	—	注射剤	高血圧	完了	完了	完了	完了			
DNAワクチン	米国	—	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	実施中						
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune (共同開発先)	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群	完了	完了	完了	前期 実施中			
ソキンヴィ (ロナファルニブ)	日本	Eiger(導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL)*	完了	完了	完了	導入品	オーファン・ ドラッグに指定	審査中	

※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型肝炎治療薬があります。

\*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PL」：プロジェイド・ラミノパチー

### ■HGF遺伝子治療用製品(一般名：ベペルミノゲンペルプラスミド)(自社品)

国内における慢性動脈閉塞症を対象疾患としたHGF遺伝子治療用製品の開発については、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品「コラテジェン®」として、慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善を効能効果として条件及び期限付き承認を取得し、2019年9月10日より発売を開始いたしました。2021年末に製造販売後承認条件評価のための目標症例数である本品投与120例、比較対照80例の患者登録が完了し、2023年5月31日に条件解除に向けた製造販売承認の申請を厚生労働省に提出いたしました。当第3四半期においては、承認に向けた審査対応を実施いたしました。

米国における開発につきましては、2022年末までに下肢潰瘍を有する閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第II相臨床試験の当初目標症例60例の投与を完了し、さらに、脱落例をふまえ、2023年第1四半期に数例の登録追加を完了しております。2023年度においては、投与後の経過観察を実施いたします。

その他、イスラエルでは、2022年に当社の提携先企業Kamada社が、イスラエル保健省に製造販売承認を申請し、現在審査が行われています。また、トルコでは、当社提携先企業Er-Kim社の申請に向けた準備が、トルコ政府の財政面の問題等から停滞しております。

当社は、コラテジェンの日本及び米国における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を田辺三菱製薬と締結しております。

### ■NF-κBデコイオリゴDNA(自社品)

核酸医薬NF-κBデコイオリゴDNAについては、米国において椎間板性腰痛症を対象とした後期第I相臨床試験を実施し、投与後の観察期間6ヶ月間に続き、12ヶ月間を経た結果でも、患者の忍容性は高い上、重篤な有害事象も認められず、安全性を確認できました。さらに、探索的にデータを評価したところ、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められ、有効性も確認できました。

当第3四半期においては、日本国内における第II相臨床試験の準備を進め、2023年10月18日に開示のとおり最初の患者投与を実施いたしました。なお、当該試験に関して塩野義製薬株式会社と契約を締結し、費用の一部を負担いただくとともに、試験結果に基づき第III相臨床試験の実施について協議する予定です。

### ■高血圧治療用DNAワクチン(自社品)

高血圧治療用DNAワクチンについては、オーストラリアでの第I相/前期第II相臨床試験は重篤な有害事象はなく、安全性に問題がないことを確認しました。今後の開発につきましては、新型コロナウイルスのDNAワクチンとは異なるプラスミドDNAの発現に関する改善策などの検討を進めてまいります。

■新型コロナウイルス感染症DNAワクチン（自社品）

2020年から2022年まで実施した研究開発の知見を活かし、プラスミドの発現効率や導入効率の向上等、プラットフォームの見直しを行い、並行して、将来発生する可能性のある新たな変異株を視野に入れた改良型DNAワクチン並びにワクチンの経鼻投与製剤の研究を米国スタンフォード大学と共同で実施しております。これまでの研究において薬剤のデリバリーシステムの改良に関する研究に進捗が見られております。

■Tie2受容体アゴニスト（共同開発品）

Tie2受容体アゴニストは、カナダのバイオ医薬品企業であるVasomune社と共同開発契約を締結し、急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象に2020年12月より米国において第Ⅰ相臨床試験を実施し、安全性と忍容性を確認いたしました。当初新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象としていましたが、その後、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換えが急速に進んだことに伴い、第Ⅱ相臨床試験の対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に広げるべく米国FDAに申請し、承認を受けることができました。当第3四半期においては、前期第Ⅱ相臨床試験の登録進捗に向け、米国において臨床試験を実施する医療機関増設の準備を実施いたしました。

■ゾキンヴィ（一般名：ロナファルニブ）（導入品）

当社は、2022年5月に米国の医薬品企業であるEiger BioPharmaceuticals Inc.（以下「Eiger社」といいます。）と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーを適応症とする治療薬であるゾキンヴィについて、日本における独占販売契約を締結いたしました。2023年3月に希少疾病治療薬（オーファン・ドラッグ）の指定を受け、2023年5月12日に厚生労働省に製造販売承認申請を提出いたしました。当第3四半期においては、承認に向けた審査対応を実施いたしました。

## Emendo社の開発プロジェクト

プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE 1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE関連重症先天性好中球減少症				
		家族性高コレステロール血症・血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患				

■ゲノム編集技術による遺伝子治療用製品開発

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及びそれを活用した開発パイプラインを持つEmendo社を子会社化しました。Emendo社では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼ（※1）を探索・最適化するプラットフォーム技術（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」（※2）を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNIヌクレアーゼ）を数多く作出し、特許を出願しております。Emendo社ではOMNI Platformの更なる性能向上、効率化を目指した開発を継続しております。

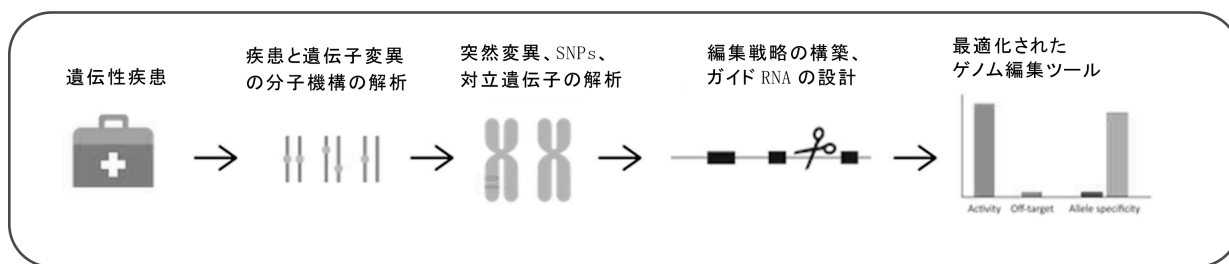
同時にEmendo社では、様々な遺伝子疾患について、その疾患と遺伝子変異の分子機構の理解に基づき、疾患に応じてゲノム編集戦略を構築し、数多くのOMNIヌクレアーゼの中から適切なヌクレアーゼを選択し、それをさらに標的配列に対して最適化して、これまでゲノム編集では対象とできなかった疾患を含め、様々な疾患に対する安全で有効な治療の開発を進めております。

なかでも、ELANE（好中球エラストーゼ遺伝子）の異常によるELANE関連重症先天性好中球減少症（※3）では、対立遺伝子（※4）配列の一方のみの変異により発症するため、その治療は、ほとんど同じ配列をもつ対立遺伝子のうち、変異のある遺伝子のみを破壊するという非常に精度の高いゲノム編集が必要となります。

Emendo社では、ELANE関連重症先天性好中球減少症を対象とするゲノム編集治療について、2023年度中に米国での臨床試験開始に向け、FDAと協議を継続しています。また、家族性高コレステロール血症（FH）を対象とするゲノム編集治療についても臨床試験に向けた研究開発を継続しております。

また、当第3四半期には、Emendo社のOMNI Platform技術に関して、評価のための試験試料等を有償で提供しております。

しかしながら、今般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響次第で、Emendo社のイスラエルにある研究施設における研究開発の進捗への影響が懸念されます。



- ※1 新規CRISPRスクレーパーゼ：ゲノム編集で使用する新たなRNA誘導型DNA切断酵素で、ガイドRNAで規定した塩基配列を識別し、その標的とした塩基配列を切断する。
- ※2 オフターゲット効果：ゲノム編集で、DNA鎖上の目的とする塩基配列以外の別の領域に、意図せぬ突然変異を引き起こしてしまうこと。
- ※3 ELANE関連重症先天性好中球減少症：顆粒球系細胞の成熟障害により発症する好中球減少症で、発症すると細菌感染などが起きやすくなり、中耳炎や気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を繰り返し、敗血症などにより死亡することもある。
- ※4 ヒトの細胞には父親から受継いだ染色体と母親から受継いだ染色体がペアとなって存在しています。それぞれの染色体には基本的に同じ遺伝子が載っており、片方の染色体に載っている遺伝子から見て、もう片方の染色体の同じ場所に載っている遺伝子を対立遺伝子と言います。

## 検査受託サービス及び提携先における開発状況

### ■希少遺伝性疾患検査を主目的としたACRLの検査受託

ACRLでは現在、一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）が展開する拡大新生児スクリーニングである「オブショナルスクリーニング」を受託しております。さらに、いくつかの地方自治体から拡大新生児スクリーニングに関するご相談をいただいております。今後CReARID以外からの受託に向けた準備を進めております。

これに加え、希少遺伝性疾患の確定のための遺伝学的検査の技術対応を完了し、来年度から受託を開始する予定で準備を進めています。さらに、治療効果をモニタリングするバイオマーカーの検査については、実施体制の構築を進めており、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体制の提供を目指してまいります。

### ■マイクロバイオームを用いた治療薬・サプリメントなどの開発

当社は、腸内細菌叢を利用した疾患治療薬や健康維持のサプリメントを開発しているイスラエルのMyBiotics Pharma Ltd.（以下「MyBiotics社」といいます。）と2018年7月に資本提携しております。MyBiotics社では、腸内細菌叢の微生物の構成を再現した培養物（SuperDonor）の製造法を確立しており、クロストリジウム・ディフィシル感染症の治療薬MBX-SD-202の第I相臨床試験をイスラエルにおいて完了し、今後の開発を米国で実施するべく、FDAと協議を行っております。

しかしながら、今般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響次第で、MyBiotics社における研究開発の進捗への影響が懸念されます。

## （4）連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

2023年12月期通期連結業績予想につきましては、2023年8月9日に公表いたしました数値から変更ありません。



## 2. 四半期連結財務諸表及び主な注記

## (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2023年9月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	11,035,102	5,958,039
売掛金	9,887	30,971
製品	3,453	103,007
原材料及び貯蔵品	1,004,996	1,428,032
前渡金	303,436	281,409
前払費用	91,734	87,711
未収消費税等	392,081	-
その他	55,766	42,398
流動資産合計	12,896,458	7,931,569
固定資産		
有形固定資産		
建物	209,531	220,861
減価償却累計額	△128,082	△133,363
建物(純額)	81,448	87,497
工具、器具及び備品	71,195	139,745
減価償却累計額	△59,941	△72,860
工具、器具及び備品(純額)	11,253	66,884
使用権資産	1,318,216	1,429,357
有形固定資産合計	1,410,919	1,583,739
無形固定資産		
のれん	23,254,472	23,755,114
無形固定資産合計	23,254,472	23,755,114
投資その他の資産		
投資有価証券	921,573	1,226,076
敷金及び保証金	97,969	98,680
繰延税金資産	158,067	164,290
その他	81,252	92,897
投資その他の資産合計	1,258,862	1,581,945
固定資産合計	25,924,253	26,920,798
資産合計	38,820,711	34,852,368

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2022年12月31日)	当第3四半期連結会計期間 (2023年9月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
買掛金	553,252	339,831
未払金	590,301	791,082
未払費用	90,094	117,835
未払法人税等	148,339	14,081
未払消費税等	-	130,059
前受金	5,764,004	3,304,550
預り金	16,865	18,200
リース債務	160,743	177,607
流動負債合計	7,323,600	4,893,249
固定負債		
繰延税金負債	12,416	20,656
資産除去債務	64,317	64,402
リース債務	994,969	974,551
固定負債合計	1,071,704	1,059,610
負債合計	8,395,304	5,952,859
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	35,146,368	34,871,162
資本剰余金	17,467,693	3,240,993
利益剰余金	△27,150,247	△15,746,229
自己株式	△31	△31
株主資本合計	25,463,783	22,365,894
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	19,396	39,410
為替換算調整勘定	4,841,242	6,398,578
その他の包括利益累計額合計	4,860,639	6,437,989
新株予約権	100,984	95,624
純資産合計	30,425,406	28,899,508
負債純資産合計	38,820,711	34,852,368

(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書

四半期連結損益計算書

第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)
<b>事業収益</b>		
製品売上高	7,735	15,516
手数料収入	38,170	73,319
研究開発事業収益	-	13,824
事業収益合計	45,905	102,659
<b>事業費用</b>		
売上原価	73,436	90,454
研究開発費	8,527,789	4,839,262
販売費及び一般管理費	3,899,947	4,380,898
事業費用合計	12,501,173	9,310,615
営業損失(△)	△12,455,267	△9,207,955
<b>営業外収益</b>		
受取利息	1,548	8,172
為替差益	2,015,615	1,562,201
補助金収入	369,942	2,921,712
受取手数料	6,776	5,497
投資事業組合運用益	-	8,010
雑収入	6,235	0
営業外収益合計	2,400,118	4,505,593
<b>営業外費用</b>		
株式交付費	6,988	18,233
投資事業組合運用損	806	-
営業外費用合計	7,794	18,233
経常損失(△)	△10,062,943	△4,720,595
<b>特別損失</b>		
減損損失	104,800	-
投資有価証券評価損	6,048	1,693
特別損失合計	110,849	1,693
税金等調整前四半期純損失(△)	△10,173,792	△4,722,289
法人税、住民税及び事業税	26,152	76,904
法人税等調整額	△5,133	△967
法人税等合計	21,019	75,937
四半期純損失(△)	△10,194,811	△4,798,226
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)	△10,194,811	△4,798,226

四半期連結包括利益計算書  
第3四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年9月30日)
四半期純損失(△)	△10,194,811	△4,798,226
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	△12,210	20,013
為替換算調整勘定	4,403,094	1,557,335
その他の包括利益合計	4,390,883	1,577,349
四半期包括利益	△5,803,928	△3,220,877
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△5,803,928	△3,220,877
非支配株主に係る四半期包括利益	-	-

## (3) 四半期連結財務諸表に関する注記事項

## (継続企業の前提に関する注記)

医薬品事業は、製品化までに多額の資金と長い時間を要する等の特性があり、創業ベンチャーである当社グループは、継続的に営業損失及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上している状況にあります。そのため、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような事象又は状況が存在しております。

当社グループは当該状況を解消すべく、下記を重要な課題として取り組んでおります。

## ① 自社既存プロジェクトの推進

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが重要な課題と認識しております。

当社グループでは、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品コラテジェンの条件及び期限付承認を厚生労働省から取得し、同年9月から販売を開始いたしました。その後、製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月に厚生労働省に条件解除に向けた製造販売承認の申請を行いました。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、2023年第1四半期連結累計期間において脱落例に対応するための追加投与を行い、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第Ⅰ相臨床試験を完了し、当第3四半期連結会計期間は日本国内における第Ⅱ相臨床試験の準備を進めておりましたが、2023年10月に最初の患者投与を実施いたしました。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症(COVID-19)による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進み、対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸切迫症候群(ARDS)に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

## ② 開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高いため、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しております。

現在の当社グループのパイプラインは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社Emendo社において、究極の遺伝子治療ともいわれるゲノム編集で具体的なプロジェクト化に向けて準備を進めております。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRスクリーニングを探索・最適化するプラットフォーム技術(OMNI Platform)を確立しており、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けFDAと協議を開始し、2023年度中の米国での臨床試験開始に向けた準備を進めております。同社はゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。ただし、一般のイスラエルとパレスチナの紛争により、主にイスラエルで進められている、Emendo社の研究施設におけるプロジェクトの進捗に影響を与える可能性があります。

2020年3月より開発を進めていた新型コロナウイルス感染症の武漢型予防DNAワクチンの開発は中止に至りましたが、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤に関する共同研究をスタンフォード大学と開始し、早期に臨床開発に移行し開発パイプライン拡大に繋がられるように取り組んでおります。

これらの開発並びに提携先との共同開発などにより、事業基盤の拡大を目指してまいります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本における独占販売契約を締結し、2023年5月に、厚生労働省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として、すでに米国及び欧州で承認を受け、販売されております。

今後も、ライセンス導入や共同開発、他社に対する資本参加や他社の買収等により開発品パイプラインの拡充による事業基盤の拡大を図り、将来の成長を実現してまいります。

また、衛生検査所であるACRLの「希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査」は首都圏を中心に受託をしておりますが、今後は各自治体や民間の検査センター等との連携により受託拡大を進めてまいります。さらに、こ

れまでのスクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定検査）や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実施できる体制の構築を進めることで、事業基盤の拡大を目指してまいります。

#### ③開発プロジェクトにおける提携先の確保

当社グループでは、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・マイルストーンや開発協力金を受け取ることで財務リスクを低減しながら開発を進め、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを事業運営の基本方針としております。

コラテジェンに関しましては、日本と米国を対象とした独占的販売契約を田辺三菱製薬と締結しており、マイルストーン収入やロイヤリティ収入が見込めます。また、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理され審査中です。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

また、塩野義製薬株式会社より、NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの日本国内における慢性椎間板性腰痛症を対象とした第II相臨床試験への協力を受け、続く第III相臨床試験の実施について協議いたします。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

当社グループにとって、研究開発活動及び事業基盤の拡大を推進することは継続的な発展のために重要であり、そのためには状況に応じ機動的に資金調達を行うことが必要となります。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権（第三者割当て）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権（第三者割当て）発行の決議を行い、2023年9月末日までに6億29百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。今後も、研究開発活動推進及び企業活動維持のために必要となる資金調達の可能性を適宜検討してまいります。

しかしながら、現時点において、第43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、当社は継続企業の前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業の前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

当社は、2023年1月1日から2023年9月30日までの間に、Cantor Fitzgerald & Co. 及びBofA証券株式会社から新株予約権の権利行使による払込みを受け、資本金及び資本剰余金がそれぞれ850,169千円増加しております。また、会社法第447条第1項及び会社法第448条第1項の規定に基づき、資本金を1,125,375千円、資本準備金を15,076,868千円減少し、その他資本剰余金へ振り替えております。この結果、当第3四半期連結累計期間において資本金が275,206千円、資本準備金が14,226,699千円減少し、当第3四半期連結会計期間末において資本金が34,871,162千円、資本剰余金が3,240,993千円となっております。

(会計方針の変更)

「時価の算定に関する会計基準の適用指針」(企業会計基準適用指針第31号 2021年6月17日。以下「時価算定会計基準適用指針」という。)を第1四半期連結会計期間の期首から適用し、時価算定会計基準適用指針第27-2項に定める経過的な取扱いに従って、時価算定会計基準適用指針が定める新たな会計方針を将来にわたって適用することとしております。これによる、四半期連結財務諸表に与える影響はありません。

(重要な後発事象)

新株予約権の行使

当社が発行いたしました第43回新株予約権につき、2023年10月1日から2023年11月7日までに、以下のとおり行使されております。

行使新株予約権個数	26,750個 (発行総数の5.99%)
交付株式数	2,675,000株
行使価額総額	217,065千円
未行使新株予約権個数	353,029個
増加する発行済株式数	2,675,000株
資本金増加額 ※1、2	108,786千円
資本剰余金増加額 ※1、2	108,786千円

※1. 資本金増加額、資本剰余金増加額には新株予約権の振替額254千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権行使による新株発行の結果、2023年11月7日現在の発行済株式総数は196,560,300株、資本金は34,979,948千円、資本剰余金は3,349,779千円となっております。

### 3. その他

#### 継続企業の前提に関する重要事象等

医薬品事業は、製品化までに多額の資金と長い時間を要する等の特性があり、創業ベンチャーである当社グループは、継続的に営業損失及び営業キャッシュ・フローのマイナスを計上している状況にあります。そのため、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような事象又は状況が存在しております。

当社グループは当該状況を解消すべく、下記を重要な課題として取り組んでおります。

#### ①自社既存プロジェクトの推進

当社グループは、現在開発している医薬品等のプロジェクトを確実に進捗させることが重要な課題と認識しております。

当社グループでは、2019年3月に国内初の遺伝子治療用製品コラテジェンの条件及び期限付承認を厚生労働省から取得し、同年9月から販売を開始いたしました。その後、製造販売後承認条件評価のための目標症例数の患者登録が完了し、2023年5月に厚生労働省に条件解除に向けた製造販売承認の申請を行いました。また、米国での閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験は2022年度末までに当初目標症例の投与を完了し、2023年第1四半期連結累計期間において脱落例に対応するための追加投与を行い、投与後の経過観察を実施しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAは、米国において後期第Ⅰ相臨床試験を完了し、当第3四半期連結会計期間は日本国内における第Ⅱ相臨床試験の準備を進めておりましたが、2023年10月に最初の患者投与を実施いたしました。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストはこれまで重度の新型コロナウイルス感染症（COVID-19）による肺炎を対象としておりましたが、重症化リスクが低いオミクロン株への置き換わりが進み、対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸切迫症候群（ARDS）に広げて米国FDAに申請し承認を受け前期第Ⅱ相臨床試験を進めております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を意識しながら開発を進めてまいります。

#### ②開発パイプラインの拡充と事業基盤の拡大

当社グループの主力事業である医薬品開発では、開発品の製品化は非常に難易度が高いため、常に開発パイプラインを充実させることが重要な課題と認識しております。

現在の当社グループのパイプラインは上記プロジェクトに加え、ゲノム編集における先進技術を持つ米国の子会社Emendo社において、究極の遺伝子治療ともいわれるゲノム編集で具体的なプロジェクト化に向けて準備を進めております。同社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRスクレーパーを探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、血液、眼科、肝代謝などの疾患領域についてパイプラインを構築しており、最も進んだELANE関連重症先天性好中球減少症を対象としたプロジェクトは米国での臨床試験実施に向けFDAと協議を開始し、2023年度中の米国での臨床試験開始に向けた準備を進めております。同社はゲノム編集技術の開発をとおして、遺伝性希少疾患に加え様々な疾患のゲノム編集技術による治療を検討しております。ただし、今般のイスラエルとパレスチナの紛争により、主にイスラエルで進められている、Emendo社の研究施設におけるプロジェクトの進捗に影響を与える可能性があります。

2020年3月より開発を進めていた新型コロナウイルス感染症の武漢型予防DNAワクチンの開発は中止に至りましたが、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される改良型DNAワクチンの経鼻投与製剤に関する共同研究をスタンフォード大学と開始し、早期に臨床開発に移行し開発パイプライン拡大に繋げられるように取り組んでおります。

これらの開発並びに提携先との共同開発などにより、事業基盤の拡大を目指してまいります。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業 Eiger社と早老症治療薬ゾキンヴィの日本における独占販売契約を締結し、2023年5月に、厚生労働省に国内製造販売承認申請を行いました。ゾキンヴィは、大変希少な致死性の遺伝的早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチーの治療薬として、すでに米国及び欧州で承認を受け、販売されております。

今後も、ライセンス導入や共同開発、他社に対する資本参加や他社の買収等により開発品パイプラインの拡充による事業基盤の拡大を図り、将来の成長を実現してまいります。

また、衛生検査所であるACRLの「希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査」は首都圏を中心に受託をしておりますが、今後は各自治体や民間の検査センター等との連携により受託拡大を進めてまいります。さらに、こ



れまでのスクリーニング検査に加え、希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定検査）や治療の効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、希少遺伝性疾患の診断から治療に至るまでの包括的な検査を実施できる体制の構築を進めることで、事業基盤の拡大を目指してまいります。

#### ③開発プロジェクトにおける提携先の確保

当社グループでは、製薬会社との提携により、開発リスクを低減するとともに、契約一時金・マイルストーンや開発協力金を受け取ることで財務リスクを低減しながら開発を進め、上市後にロイヤリティを受領するという提携モデルを事業運営の基本方針としております。

コラテジェンに関しましては、日本と米国を対象とした独占的販売契約を田辺三菱製薬と締結しており、マイルストーン収入やロイヤリティ収入が見込めます。また、イスラエルにおきましては、独占的販売権の許諾について2019年に基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に承認申請を行い受理され審査中です。さらにトルコにおいては、2020年にスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うEr-Kim社と独占的販売権許諾に関する基本合意書を締結しました。

また、塩野義製薬株式会社より、NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの日本国内における慢性椎間板性腰痛症を対象とした第II相臨床試験への協力を受け、続く第III相臨床試験の実施について協議いたします。

今後も、更なる製薬会社等との提携を検討するとともに、開発プロジェクトに協力いただける企業を開拓し、事業基盤の強化に努めてまいります。

#### ④資金調達の実施

当社グループにとって、研究開発活動及び事業基盤の拡大を推進することは継続的な発展のために重要であり、そのためには状況に応じ機動的に資金調達を行うことが必要となります。2022年10月12日に発行したCantor Fitzgerald & Co.を割当先とする第42回新株予約権（第三者割当て）について調達開始から2023年3月末日までに46億50百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。また、2023年6月26日開催の取締役会において、BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権（第三者割当て）発行の決議を行い、2023年9月末日までに6億29百万円（新株予約権発行による入金を含む）を調達いたしました。今後も、研究開発活動推進及び企業活動維持のために必要となる資金調達の可能性を適宜検討してまいります。

しかしながら、現時点において、第43回新株予約権の今後の行使される個数、行使価額、行使時期は未確定であり、また上記に記載したプロジェクトを継続的に進めるための更なる資金調達の方法、調達金額、調達時期については確定しておらず、当社は継続企業の前提に関する重要な不確実性が存在していると判断しております。

なお、四半期連結財務諸表は継続企業を前提としており、上記のような継続企業の前提に関する重要な不確実性の影響を四半期連結財務諸表には反映しておりません。