



## 2024年12月期 第1四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

2024年5月10日

上場会社名 アンジェス株式会社 上場取引所 東  
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) 村上 由佳 (TEL) -  
四半期報告書提出予定日 2024年5月14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. 2024年12月期第1四半期の連結業績(2024年1月1日~2024年3月31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	%
2024年12月期第1四半期	113	584.0	△2,476	-	△1,527	-	△1,824	-
2023年12月期第1四半期	16	7.9	△3,036	-	△2,897	-	△2,911	-

(注) 包括利益 2024年12月期第1四半期 △1,270百万円(-%) 2023年12月期第1四半期 △2,824百万円(-%)

	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
2024年12月期第1四半期	△9.14	-
2023年12月期第1四半期	△15.91	-

(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。

## (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	%
2024年12月期第1四半期	28,029	25,052	89.1
2023年12月期	28,892	26,103	90.0

(参考) 自己資本 2024年12月期第1四半期 24,965百万円 2023年12月期 26,007百万円

## 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
2023年12月期	-	0.00	-	0.00	0.00
2024年12月期	-	-	-	-	-
2024年12月期(予想)	-	0.00	-	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. 2024年12月期の連結業績予想(2024年1月1日~2024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	600	292.2	△8,450	-	△8,450	-	△8,650	-	△43.06

(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 : 無
  - 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）	2024年12月期 1 Q	201,306,000株	2023年12月期	198,470,300株
② 期末自己株式数	2024年12月期 1 Q	92株	2023年12月期	92株
③ 期中平均株式数（四半期累計）	2024年12月期 1 Q	199,559,728株	2023年12月期 1 Q	182,956,586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、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「(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
四半期連結損益計算書 .....	9
第1四半期連結累計期間 .....	9
四半期連結包括利益計算書 .....	10
第1四半期連結累計期間 .....	10
(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) .....	12
(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。また、希少遺伝性疾患の有無を調べるスクリーニング検査や、主に希少疾患向けに海外で販売されていて、日本国内では販売されていない医薬品の国内への導入なども積極的に取り組んでおります。

当第1四半期連結累計期間の事業収益は前年同期に比べ96百万円増加し1億13百万円(前年同期比584.0%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1四半期連結会計期間においては、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3百万円(同3百万円の増加)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35百万円(同18百万円の増加)を計上いたしました。さらに、当社連結子会社のEmendoBio Inc.(以下、「Emendo社」といいます。)が開発したゲノム編集のためのOMNIスクレアーゼの非独占的使用権について、スウェーデンのAnocca AB(以下、「Anocca社」といいます。)とライセンス契約を締結し、契約一時金を研究開発事業収益として74百万円計上いたしました。

当第1四半期連結累計期間における事業費用は、前年同期に比べ4億62百万円減少し、25億90百万円(同15.2%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ16百万円増加し、41百万円(同66.8%増)となりました。コラテジェンにかかる製品売上原価は、前年同期において使用期限切れによる廃棄が見込まれる製品の評価損3百万円を計上していたため、前年同期に比べ0百万円減少し、2百万円(同22.5%減)となっております。ACRLにおけるオプションスクリーニング検査にかかる原価は、前年同期に比べ17百万円増加し、39百万円(同81.0%増)となっております。

研究開発費は、前年同期に比べ6億7百万円減少し、9億71百万円(同38.5%減)となりました。主にEmendo社において、材料の購入減により研究用材料費が2億58百万円、人員の減少により給料手当が1億32百万円、製造関連費用等の減少により外注費が99百万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1億28百万円増加し、15億76百万円(同8.9%増)となりました。Emendo社の事業再編に伴う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1億17百万円増加しております。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88百万円増加しております。

この結果、当第1四半期連結累計期間の営業損失は24億76百万円(前年同期の営業損失は30億36百万円)となりました。

営業外損益においては、主に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9億24百万円発生しております(前年同期は1億3百万円の為替差益)。Vasomune Therapeutics, Inc.(以下、「Vasomune社」といいます。)が米国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27百万円を受領し、補助金収入に計上しております(前年同期は32百万円)。

この結果、当第1四半期連結累計期間の経常損失は15億27百万円(前年同期の経常損失は28億97百万円)となりました。

当第1四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18億24百万円(前年同期の親会社株主に帰属する四半期純損失は29億11百万円)となりました。Emendo社において、同社の研究開発部門の再編に伴い、事業構造改革費用2億47百万円を計上しております。

(2) 財政状態に関する説明

当第1四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8億63百万円減少し、280億29百万円となりました。

流動資産は15億28百万円減少し、43億93百万円となっております。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、2億20百万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20億44百万円減少し、21億15百万円となりました。ゾキンヴィを購入したことにより、商品を2億99百万円計上いたしました。

当第1四半期連結会計期間末の固定資産は6億65百万円増加し、236億36百万円となっております。のれんは、償却により8億13百万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換算額が14億53百万円増加し、前連結会計年度末に比べ6億39百万円増加して223億85百万円となりました。

当第1四半期連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ1億87百万円増加し、29億76百万円となりました。主にゾキンヴィの購入により、買掛金が2億71百万円増加しております。前年度の消費税の納付により、未払消費税等が93百万円減少しております。

当第1四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10億50百万円減少し、250億52百万円となりました。BofA証券株式会社を割当先とする第43回新株予約権及びストックオプションの行使により、資本金及び資本剰余金がそれぞれ1億13百万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18億24百万円の計上により、利益剰余金が減少しております。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5億34百万円増加しております。

(3) 研究開発活動に関する説明

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の分野において当社グループの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。2024年1月18日には米国Eiger社より導入した所謂早老症治療薬ゾキンヴィが厚生労働省より製造販売承認を取得し、4月17日に薬価基準に収載されました。

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					
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	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症潰瘍						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 (ベベ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				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							審査中
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症							申請 準備中
NF-kBディオリゴDNA	日本	—	注射剤	腰痛症				実施中			
DNAワクチン	豪州	—	注射剤	高血圧				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				前期 実施中			
ゾキンヴィ (ロナファルニブ)	日本	Eiger(導入元)	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL)*				導入品	オフファン・ ドラッグに指定		承認済(2024/1)

■HGF遺伝子治療用製品(一般名:ベベ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月より販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。

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1四半期に追加症例の登録を完了しております。2024年度第2四半期には、後期第Ⅱ相臨床試験のトップラインデータが公開される予定となっております。

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社の申請に向け準備を進めておりますが、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- $\kappa$ BデコイオリゴDNA（自社品）

核酸医薬NF- $\kappa$ B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、安全性が確認できました。さらに、探索的に有効性を評価したところ、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められました。

当第1四半期においては、第Ⅱ相臨床試験の症例登録を順調にすすめております。なお、当該臨床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。

■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に試験計画の変更を申請し、承認を受けました。当第1四半期においては、順調に症例登録を進めており、今後も医療機関との連携を進め今年度内の目標症例数の登録を目指してまいります。

■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・プロジェクト症候群とプロセシング不全性のプロジェクト・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月に厚生労働省に製造販売承認申請を提出いたしました。その後、2024年1月18日に厚生労働省より製造販売承認を取得し、4月17日に薬価基準へ収載されました。今後は、5月中の発売に向けて準備を進めてまいります。



## 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	PHASE1-3
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

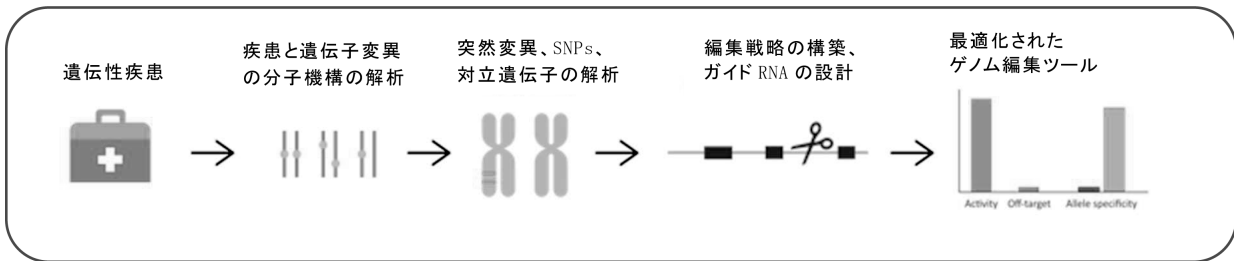
当社は、究極の遺伝子治療法ともいわれるゲノム編集技術を用いた遺伝子疾患治療に挑むため、2020年12月にゲノム編集における先進技術及びそれを活用した開発パイプラインを持つEmendo社を子会社化しました。Emendo社では、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼ（※1）を探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI Platform）を確立しており、ゲノム編集でしばしば問題視される「オフターゲット効果」（※2）を回避できるなど、新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNI ヌクレアーゼ）を数多く作出し、特許を出願しております。Emendo社ではOMNI Platform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。

Emendo社では、ELANE関連重症先天性好中球減少症（※3）を対象とするゲノム編集治療について、早期の米国での臨床試験開始に向けた準備を継続しています。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1四半期には、知識集約的な研究開発体制に移行するための事業再編成を実施し、Emendo社のイスラエルにある研究施設における研究開発活動の規模をそれに見合ったものとするとともに、米国における研究開発活動及び導出等を進めるための体制づくりを進めております。

3月14日には、スウェーデンのバイオ企業であるAnocca社と、Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼの非独占的ライセンス契約を締結し、Anocca社が開発しているT細胞受容体改変T細胞（TCR-T）療法による固形がん等の治療にEmendo社の技術が使用されることとなりました。



※1 新規CRISPRヌクレアーゼ：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。

## 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「オプショナルスクリーニング」を受託しております。この拡大新生児スクリーニングにおいて陽性となった受検者のうち、偽陽性の受検者を選別するための二次スクリーニング検査方法を開発しており、その成果を2024年2月に米国サンディエゴで開催されたライソゾーム学会で発表いたしました。

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、2024年度中に受託を開始できるよう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の製造法を確立しており、イスラエルにおいて第I相臨床試験を完了したクロストリジウム・ディフィシル感染症治療薬MBX-SD-202の米国開発の準備を進めております。しかしながら、一般のイスラエルとパレスチナにおける紛争の影響もあり、MyBiotics社における研究開発の継続が懸念される状況となっております。

(4) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

当期の見通しにつきましては2024年3月14日に連結業績予想として公表いたしましたとおり、事業収益6億円、営業損失84億50百万円、経常損失84億50百万円、親会社株主に帰属する当期純損失86億50百万円を見込んでおり、現時点で変更ありません。

事業収益および事業費用につきましては、適宜精査を行っており、今期の見込み額に変更が生じ、業績予想に修正が必要と判断された場合には速やかに公表いたします。



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 (2023年12月31日)	当第1四半期連結会計期間 (2024年3月31日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	4,160,424	2,115,624
売掛金	26,534	97,701
商品	-	299,723
製品	97,655	94,980
原材料及び貯蔵品	1,468,481	1,543,928
前渡金	49,674	81,189
前払費用	85,906	67,225
未収消費税等	-	82,044
その他	32,599	10,772
流動資産合計	5,921,276	4,393,191
固定資産		
有形固定資産		
建物	220,842	220,865
減価償却累計額及び減損損失累計額	△135,121	△136,934
建物（純額）	85,721	83,930
工具、器具及び備品	149,893	160,907
減価償却累計額及び減損損失累計額	△80,224	△87,887
工具、器具及び備品（純額）	69,669	73,020
使用権資産	267,728	260,411
有形固定資産合計	423,118	417,362
無形固定資産		
のれん	21,746,086	22,385,934
無形固定資産合計	21,746,086	22,385,934
投資その他の資産		
投資有価証券	355,545	388,945
敷金及び保証金	102,056	101,090
繰延税金資産	342,944	341,586
その他	1,509	1,369
投資その他の資産合計	802,055	832,991
固定資産合計	22,971,260	23,636,288
資産合計	28,892,536	28,029,480

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2023年12月31日)	当第1四半期連結会計期間 (2024年3月31日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
買掛金	426,447	697,791
未払金	474,522	450,185
未払費用	36,947	37,893
事業構造改革引当金	558,129	568,398
未払消費税等	93,258	-
未払法人税等	103,147	124,718
前受金	637,550	638,200
預り金	15,434	17,599
リース債務	147,726	155,391
流動負債合計	2,493,163	2,690,176
固定負債		
繰延税金負債	16,827	25,202
資産除去債務	64,430	64,459
リース債務	214,949	196,846
固定負債合計	296,207	286,507
負債合計	2,789,370	2,976,684
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	35,053,890	35,167,774
資本剰余金	3,423,721	3,537,605
利益剰余金	△18,385,610	△20,209,661
自己株式	△31	△31
株主資本合計	20,091,969	18,495,686
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	24,757	43,601
為替換算調整勘定	5,891,202	6,425,806
その他の包括利益累計額合計	5,915,960	6,469,407
新株予約権	95,236	87,701
純資産合計	26,103,166	25,052,795
負債純資産合計	28,892,536	28,029,480

## (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1四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第1四半期連結累計期間 (自2023年1月1日 至2023年3月31日)	当第1四半期連結累計期間 (自2024年1月1日 至2024年3月31日)
<b>事業収益</b>		
製品売上高	31	3,901
手数料収入	16,571	35,350
研究開発事業収益	-	74,310
事業収益合計	16,602	113,561
<b>事業費用</b>		
売上原価	25,153	41,959
研究開発費	1,579,242	971,544
販売費及び一般管理費	1,448,440	1,576,749
事業費用合計	3,052,835	2,590,254
営業損失(△)	△3,036,232	△2,476,692
<b>営業外収益</b>		
受取利息	1,078	1,794
為替差益	103,604	924,523
補助金収入	32,066	27,916
受取手数料	1,153	1,005
投資事業組合運用益	6,511	-
雑収入	0	-
営業外収益合計	144,415	955,239
<b>営業外費用</b>		
株式交付費	5,505	4,922
投資事業組合運用損	-	746
営業外費用合計	5,505	5,668
経常損失(△)	△2,897,322	△1,527,122
<b>特別利益</b>		
新株予約権戻入益	-	3,096
特別利益合計	-	3,096
<b>特別損失</b>		
投資有価証券評価損	1,117	-
事業構造改革費用	-	247,085
特別損失合計	1,117	247,085
税金等調整前四半期純損失(△)	△2,898,440	△1,771,111
法人税、住民税及び事業税	14,374	32,956
法人税等調整額	△1,203	19,983
法人税等合計	13,170	52,940
四半期純損失(△)	△2,911,611	△1,824,051
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)	△2,911,611	△1,824,051

## 四半期連結包括利益計算書

## 第1四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第1四半期連結累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年3月31日)	当第1四半期連結累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年3月31日)
四半期純損失(△)	△2,911,611	△1,824,051
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	3,812	18,843
為替換算調整勘定	83,263	534,603
その他の包括利益合計	87,075	553,446
四半期包括利益	△2,824,535	△1,270,604
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△2,824,535	△1,270,604
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。

2019年3月に条件及び期限付承認を厚生労働省から取得した遺伝子治療用製品コラテジェンは、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月に同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。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、投与後の経過観察を実施しております。また、イスラエルにおいては、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。

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、2023年10月に日本国内における第Ⅱ相臨床試験における最初の患者投与を実施し、安全性が確認され、予定どおり症例登録を実施しております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストは、米国における前期第Ⅱ相臨床試験が順調に症例登録を進めており、当事業年度内の登録完了を目指しております。

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。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月にEiger社と日本における独占販売契約を締結した早老症治療薬ゾキンヴィが、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認されました。

新型コロナウイルス感染症に対しては、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経鼻投与ワクチンに関する共同研究をスタンフォード大学と推進しております。

また、事業基盤拡大の実績としては、当社連結子会社の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治療の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、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へのゲノム編集技術による治療を検討しております。同社が開発しているゲノム編集のためのOMNIスクレーパーの非独占的使用権をスウェーデンのAnocca社に供与する契約を2024年3月に締結いたしました。

さらに、ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの検査受託については、新たな自治体からの受託に向けた交渉を継続しており、またスクリーニング検査に加え、当事業年度内に開始予定の遺伝学的検査、バイオマーカー検査などの受託に向けた準備も進めております。

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。

## 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株式会社と締結しており、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、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相臨床試験では、塩野義

製薬株式会社の協力を受けるとともに、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、上記①②を実現するために機動的に資金調達を行うことは重要な課題と認識しております。2023年7月に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）を発行し、調達開始から2024年3月末日までに12億5百万円を調達いたしました。また、2024年3月19日開催の取締役会においてCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回及び第2回新株予約権付社債発行プログラム設定に係る契約により最大で2,600百万円の新株予約権付社債の発行と第44回新株予約権の発行を決議いたしました。

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、上記に記載した第1回新株予約権付社債1,300百万円の入金は2024年4月にあったものの、第2回新株予約権付社債の発行並びに第44回新株予約権の行使は株価等の動向に左右されることから未確定であり、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、2024年1月1日から2024年3月31日までの間に、BofA証券から新株予約権の権利行使による払込み及びストックオプションの権利行使による払込みを受けました。この結果、当第1四半期連結累計期間において資本金が113,884千円、資本準備金が113,884千円増加し、当第1四半期連結会計期間末において資本金が35,167,774千円、資本剰余金が3,537,605千円となっております。

(単位：千円)

	株主資本				
	資本金	資本剰余金	利益剰余金	自己株式	株主資本合計
2024年1月1日残高	35,053,890	3,423,721	△18,385,610	△31	20,091,969
四半期連結累計期間中の変動額					
新株の発行(新株予約権の行使)	113,884	113,884			227,768
親会社株主に帰属する四半期純損失(△)			△1,824,051		△1,824,051
四半期連結累計期間中の変動額合計	113,884	113,884	△1,824,051	—	△1,596,283
2024年3月31日残高	35,167,774	3,537,605	△20,209,661	△31	18,495,686



(重要な後発事象)

(1) 第43回新株予約権の行使停止要請通知並びに取得及び消却

2024年3月19日付の取締役会において決議いたしましたとおり、第43回新株予約権につきまして、割当先であるBofA証券株式会社との間で締結した第三者割当て契約に基づき、同社に対して同新株予約権の行使停止要請通知を行い、2024年4月5日付で残存する同新株予約権を1個につき19円で、305,662個全てを5,807千円で取得し、取得後直ちに消却いたしました。

(2) 第1回無担保転換社債型新株予約権付社債の発行と転換社債の転換

2024年3月19日付の取締役会において決議いたしましたとおり、2024年4月5日に発行いたしましたCantor Fitzgerald Europeを割当予定先とする第1回無担保転換社債型新株予約権付社債（転換価額修正条項付）につきまして、1,300,000千円の払い込みがあり、転換社債は2024年4月6日から5月8日までに、以下のとおり転換されております。

行使転換社債個数	25個（発行総数の62.50%）
行使価額総額	812,500千円
未行使転換社債個数	15個
増加する発行済株式数	16,367,816株
資本金増加額 ※1	406,250千円
資本剰余金増加額 ※1	406,250千円

※1. 上記の転換社債の転換の結果、2024年5月8日現在の発行済株式総数は217,673,816株、資本金は35,574,024千円、資本剰余金は3,943,855千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。

2019年3月に条件及び期限付承認を厚生労働省から取得した遺伝子治療用製品コラテジェンは、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月に同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。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、投与後の経過観察を実施しております。また、イスラエルにおいては、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。

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、2023年10月に日本国内における第Ⅱ相臨床試験における最初の患者投与を実施し、安全性が確認され、予定どおり症例登録を実施しております。

Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストは、米国における前期第Ⅱ相臨床試験が順調に症例登録を進めており、当事業年度内の登録完了を目指しております。

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。

開発パイプラインの拡充実績として、2022年5月にEiger社と日本における独占販売契約を締結した早老症治療薬ゾキンヴィが、2024年1月に厚生労働省から製造販売承認されました。

新型コロナウイルス感染症に対しては、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経鼻投与ワクチンに関する共同研究をスタンフォード大学と推進しております。

また、事業基盤拡大の実績としては、当社連結子会社の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治療の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ヌクレアーゼを探索・最適化するプラットフォーム技術(OMNI Platform)を確立し、が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へのゲノム編集技術による治療を検討しております。同社が開発しているゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権をスウェーデンのAnocca社に供与する契約を2024年3月に締結いたしました。

さらに、ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの検査受託については、新たな自治体からの受託に向けた交渉を継続しており、またスクリーニング検査に加え、当事業年度内に開始予定の遺伝学的検査、バイオマーカー検査などの受託に向けた準備も進めております。

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。

#### 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株式会社と締結しており、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、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相臨床試験では、塩野義

製薬株式会社の協力を受けるとともに、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、上記①②を実現するために機動的に資金調達を行うことは重要な課題と認識しております。2023年7月に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）を発行し、調達開始から2024年3月末日までに12億5百万円を調達いたしました。また、2024年3月19日開催の取締役会においてCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第1回及び第2回新株予約権付社債発行プログラム設定に係る契約により最大で2,600百万円の新株予約権付社債の発行と第44回新株予約権の発行を決議いたしました。

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、上記に記載した第1回新株予約権付社債1,300百万円の入金は2024年4月であったものの、第2回新株予約権付社債の発行並びに第44回新株予約権の行使は株価等の動向に左右されることから未確定であり、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。