



2025年12月期 第2四半期（中間期）決算短信〔日本基準〕（連結）

2025年8月8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） —
 半期報告書提出予定日 2025年8月13日 配当支払開始予定日 —
 決算補足説明資料作成の有無 : 無
 決算説明会開催の有無 : 有（機関投資家・アナリスト 向け）

（百万円未満切捨て）

1. 2025年12月期第2四半期（中間期）の連結業績（2025年1月1日～2025年6月30日）

(1) 連結経営成績（累計）

（%表示は、対前年中間期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する中間純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2025年12月期中間期	414	19.4	△2,400	—	△3,898	—	△3,966	—
2024年12月期中間期	347	578.5	△5,107	—	△3,190	—	△3,500	—
(注) 包括利益	2025年12月期中間期 △2,518百万円 (—%)		2024年12月期中間期 △2,533百万円 (—%)					

	1株当たり 中間純利益	潜在株式調整後 1株当たり 中間純利益
	円 銭	円 銭
2025年12月期中間期	△12.07	—
2024年12月期中間期	△16.60	—

(注) 当社では、中間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	%
2025年12月期中間期	5,786	3,402	57.5
2024年12月期	4,668	2,156	44.0
(参考) 自己資本	2025年12月期中間期 3,324百万円	2024年12月期 2,052百万円	

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
2024年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2025年12月期	—	0.00			
2025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. 2025年12月期の連結業績予想（2025年1月1日～2025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	1,350	109.7	△5,800	—	△5,820	—	△5,850	△17.04

(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) 当中間期における連結範囲の重要な変更 : 無
- (2) 中間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）	2025年12月期中間期	357,809,950株	2024年12月期	286,377,550株
② 期末自己株式数	2025年12月期中間期	230株	2024年12月期	230株
③ 期中平均株式数（中間期）	2025年12月期中間期	328,461,671株	2024年12月期中間期	210,924,458株

※ 第2四半期（中間期）決算短信は公認会計士又は監査法人の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
(5) 継続企業の前提に関する重要事象等	6
2. 中間連結財務諸表及び主な注記	8
(1) 中間連結貸借対照表	8
(2) 中間連結損益計算書及び中間連結包括利益計算書	10
中間連結損益計算書	10
中間連結会計期間	10
中間連結包括利益計算書	11
中間連結会計期間	11
(3) 中間連結キャッシュ・フロー計算書	12
(4) 中間連結財務諸表に関する注記事項	13
(継続企業の前提に関する注記)	13
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	14
(セグメント情報等の注記)	14
(重要な後発事象)	15

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として、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等も積極的に取り組んでおります。

当中間連結会計期間の事業収益は前年同期に比べ67百万円増加し4億14百万円(前年同期比19.4%増)となりました。当社グループでは、2024年5月より早老症治療薬「ゾキンヴィ」の販売を開始しており、当中間連結会計期間において1億42百万円の商品売上高を計上しております(同9百万円の減少)。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、拡大新生児スクリーニングの受託数が前年同期に比べ順調に増加していることから、手数料収入として2億72百万円(同1億64百万円の増加)を計上いたしました。HGF遺伝子治療用製品コラテジェンは、前年同期において製品売上高11百万円を計上しておりましたが、2024年6月に国内での販売を終了いたしました。連結子会社EmendoBio Inc.(以下、「Emendo社」といいます。)において、前年同期に契約一時金を受領し、研究開発事業収益として76百万円計上しておりましたが、当中間連結会計期間での計上はありませんでした。

当中間連結会計期間における事業費用は、前年同期に比べ26億40百万円減少し、28億15百万円(同48.4%減)となりました。

売上原価は、前年同期に比べ55百万円増加し、2億54百万円(同27.6%増)となりました。2024年5月より販売を開始したゾキンヴィにかかる商品売上原価は、商品売上高の減少に伴い前年同期に比べ7百万円減少し、92百万円となっております(同7.8%減)。ACRLにおける拡大新生児スクリーニング検査にかかる原価は、受託数の増加に伴い前年同期に比べ70百万円増加し、1億62百万円(同77.7%増)となりました。

研究開発費は、前年同期に比べ6億89百万円減少し、15億55百万円(同30.7%減)となりました。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材料及びコラテジェンの製品にかかる評価損を計上しておりましたが、当期においては評価損の計上がなかったため、研究用材料費が5億29百万円減少しております。Emendo社において、事業再編成に伴う人員の減少により役員報酬が26百万円、給料手当が41百万円、法定福利費が39百万円減少しております。Vasomune社と共同開発しているTie2受容体アゴニストに係る治験費用の減少により、外注費が64百万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、提携戦略等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20億5百万円減少し、10億4百万円(同66.6%減)となりました。前年同期においてはEmendo社買収にかかるのれん償却額を16億68百万円計上しておりましたが、前年度において当該のれんを減損したことにより、当期においてはのれん償却額の計上がありませんでした。Emendo社において、事業再編成に伴う人員の減少により役員報酬が51百万円、給料手当が1億6百万円、法定福利費が19百万円減少しました。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減少したため、支払手数料が前年同期より86百万円減少しております。

この結果、当中間連結会計期間の営業損失は24億円(前年同期の営業損失は51億7百万円)となりました。

営業外損益においては、Emendo社へのUSドル建貸付金の評価替の影響により、為替差損14億91百万円を計上しております(前年同期は為替差益19億16百万円)。前年同期において、Vasomune社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依りて27百万円を受領し、補助金収入に計上しておりましたが、当中間連結会計期間においては補助金収入の計上はありませんでした。

この結果、当中間連結会計期間の経常損失は38億98百万円(前年同期の経常損失は31億90百万円)となりました。

特別損失においては、前年同期にEmendo社の研究開発部門の再編成に伴う事業構造改革費用2億30百万円を計上しておりましたが、当期においては計上がありませんでした。

これらの結果、当中間連結会計期間の親会社株主に帰属する中間純損失は39億66百万円(前年同期の親会社株主に帰属する中間純損失は35億円)となりました。

(2) 財政状態に関する説明

① 資産、負債、純資産の状況

当中間連結会計期間末の総資産は前連結会計年度末に比べ11億17百万円増加し、57億86百万円となりました。

流動資産は前連結会計年度末に比べ11億86百万円増加し、47億28百万円となっております。2024年9月17日に発行したCantor Fitzgerald Europeを割当先とする第45回新株予約権について当中間連結会計期間に37億64百万円を調達し、現金及び預金は前連結会計年度末に比べ12億円増加して29億8百万円となりました。

当中間連結会計期間末の固定資産は前連結会計年度末に比べ68百万円減少し、10億57百万円となっております。

当中間連結会計期間末の負債は前連結会計年度末に比べ1億27百万円減少し、23億84百万円となりました。当中間連結会計期間に係る費用の計上及び支払により、買掛金が74百万円減少、未払金が20百万円増加しております。固定負債において、Emendo社の社屋に係るリース債務が72百万円減少しております。

当中間連結会計期間末の純資産は前連結会計年度末に比べ12億45百万円増加し、34億2百万円となりました。Cantor Fitzgerald Europeを割当先とする第45回新株予約権の行使により、資本金が18億95百万円、資本剰余金が18億95百万円増加しております。親会社株主に帰属する中間純損失の計上により、利益剰余金が39億66百万円減少しております。

② キャッシュ・フローの状況

当中間連結会計期間末における現金及び現金同等物(以下、「資金」といいます。)は、前連結会計年度末に比べ11億93百万円増加し、28億20百万円となりました。当中間連結会計期間のキャッシュ・フローの状況は次のとおりです。

(営業活動によるキャッシュ・フロー)

当中間連結会計期間における営業活動による資金の減少は、24億77百万円(前年同期は42億51百万円の減少)となりました。未収消費税等が1億15百万円減少、為替差損を14億46百万円計上しましたが、税金等調整前中間純損失38億98百万円に加え、売上債権が34百万円増加、仕入債務が66百万円減少しております。

(投資活動によるキャッシュ・フロー)

当中間連結会計期間における投資活動による資金の減少は、40百万円(前年同期は71百万円の減少)となりました。長期貸付による支出15百万円、有形固定資産の取得による支出12百万円、Emendo社において拘束性預金の預入による支出12百万円が発生しております。

(財務活動によるキャッシュ・フロー)

当中間連結会計期間における財務活動による資金の増加は、37億48百万円(前年同期は18億43百万円の増加)となりました。Cantor Fitzgerald Europeを割当先とする第45回新株予約権が行使され、新株予約権の行使による株式の発行による収入が37億48百万円となっております。

(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、難易度の高い技術を開発しております。さらに、ACRLにおいて、希少遺伝性疾患の検査として拡大新生児スクリーニングの受託を始め、遺伝学的検査、バイオマーカー検査における新たな疾患への取り組み等を行っております。

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

プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験(治験)			申請・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)	日本	-	注射剤	慢性動脈閉塞症	[進捗バー]					米国の進捗を見ながら検討	
	米国	-	注射剤	包括的高度慢性下肢虚血(CLTI)	[進捗バー]					BLAに向けた準備を開始	
	イスラエル トルコ	Kamada Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	[進捗バー]						
NF-κBデコイオリゴDNA	日本	-	注射剤	慢性椎間板性腰痛症	[進捗バー]						
DNAワクチン	オーストラリア	-	注射剤	高血圧	[進捗バー]						
Tie2受容体アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	急性呼吸窮迫症候群(ARDS)	[進捗バー]						

※HGF遺伝子治療用製品の日本国内における条件及び期限付き承認の期間満了に伴い、イスラエルKamada社及びトルコEr-Kim社との契約について両社と見直し中です。

■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)

HGF遺伝子治療用製品の開発につきましては、米国での後期第II相臨床試験の結果が良好であったことを踏まえ、米国での開発を優先しております。

具体的には、米国において、軽度から中等度の下肢潰瘍を有する包括的高度慢性下肢虚血(CLTI)を対象とした後期第II相臨床試験の投与を2023年第1四半期に完了し、2024年6月に試験結果の速報値により、良好な結果を確認いたしました。この結果から、2024年9月に米国FDAによるブレイクスルー・セラピー(画期的新薬)に指定されました。今後の米国での開発計画について当社は、FDAと協議の結果に即し、臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請(BLA)を目指し、準備を進めることといたしました。なお、上記臨床試験結果につきましては、主導医師の論文が発表されたのちに詳細をお知らせする予定です。

国内におけるHGF遺伝子治療用製品の開発については、米国での開発の進捗を踏まえ、検討してまいります。

なお、田辺三菱製薬とのコラテジェンの販売権許諾契約については、2024年11月1日に日本国内の契約が終了し、2025年2月1日に米国の契約が終了しています。

■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につきましては、当中間期において、2018年より米国で実施した第I相臨床試験の結果が北米脊椎学会が発行する「The SPINE JOURNAL」に掲載されました。当論文において、NF-κBデコイオリゴDNAがプラセボに対し、痛みの有意な軽減と、椎間板厚の有意な改善が見られたことが示されました。

2023年10月に開始したNF-κBデコイオリゴDNAの日本国内における第II相臨床試験は、年内の完了を目指し症例の登録を進めております。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等の検討を進めてまいります。

■Tie2受容体アゴニスト(共同開発品)

Tie2受容体アゴニスト(AV-001)は、カナダのバイオ医薬品企業であるVasomune社と共同開発契約を締結し、米国において急性呼吸不全等、血管の不全を原因とする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)を対象に前期第II相臨床試験を実施しております。今後も医療機関との連携を進め、2025年度下半期に目標症例数の登録を目指します。

Emendo社の開発プロジェクト

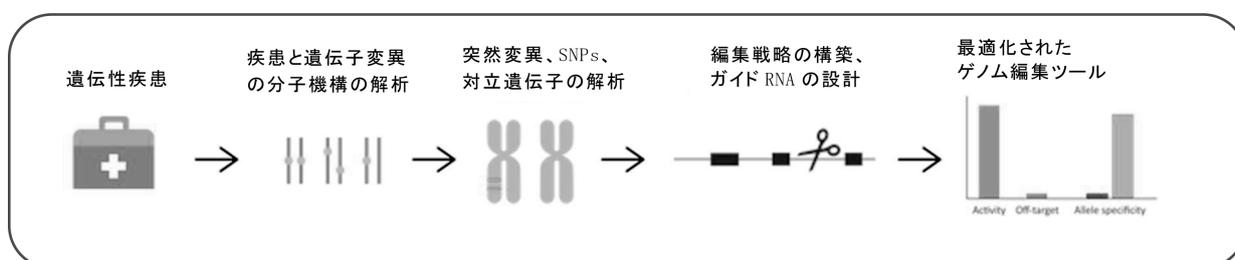
プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE 1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE関連重症先天性好中球減少症	[進捗バー]			
		家族性高コレステロール血症・血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患	[進捗バー]			

■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の開発を行っている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)を回避できる等、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。

2024年には、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を適正化いたしました。また、イスラエルと周辺国との戦争の状況を踏まえ、イスラエルの研究所における研究成果を米国でバックアップする体制を構築しており、米国における研究開発活動及び導出等の準備を進めております。また、これまでに開発してきたOMNIヌクレアーゼの更なる最適化、効率化等を進めております。

さらに、スタンフォード大学医学部と共同で、Emendo社のゲノム編集技術を活用し新たながんゲノム編集治療法の研究を進めております。当中間期において、同研究に使用するヌクレアーゼの設計を完了し、今後の研究で有効性を検証してまいります。



※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。

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、拡大新生児スクリーニング検査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、今後もその対象疾患の拡大を広げるべく開発を継続いたします。2025年には長野県における拡大新生児スクリーニングの受託も開始され、当該二次スクリーニングについても併せて対応いたします。

これに加え、早老症治療薬ゾキンヴィの発売に伴い、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(HGPS)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(PDPL)の遺伝学的検査を受託できる体制を構築し、希少遺伝性疾患の確定のための遺伝学的検査の受託を開始しました。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、拡大新生児スクリーニングの対象疾患の一部に対し検査体制を構築いたしました。今後、まだ体制が未整備のスクリーニング検査対象疾患へのバイオマーカー検査の体制構築を進め、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いたしました。

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

当期の見通しにつきましては2025年2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13億500万円、営業損失58億円、経常損失58億200万円、親会社株主に帰属する当期純損失58億500万円を見込んでおり、現時点で変更ありません。

事業収益及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。

(5) 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、創薬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HGF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、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が、米国の良好な臨床試験結果を踏まえて、戦略的な観点から2024年6月に申請を一旦取り下げ、販売も終了いたしました。一方、米国での後期第Ⅱ相臨床試験は2024年6月に良好な結果が得られ、同年9月に米国FDAからブレイクスルー・セラピー(画期的新薬)に指定され、2024年11月の米国心臓病学会において臨床試験の主導医師からトップラインデータが発表されました。これらの状況から、米国での製品化を最優先とし、最短での製造販売承認を目指し米国での開発に注力しております。また、同製品の原薬供給体制の確立に向けて、ペーリンガー・インゲルハイム・バイオフーマシューティカルズ社と協議を進めております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- κ 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月から日本国内における第Ⅱ相臨床試験を開始し、予定どおり症例登録を実施しております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を明確にし、開発速度を最大限に高めながら進めてまいります。

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において、上記プロジェクトのように遺伝子医薬や核酸医薬等、新しい分野の医薬品開発に取り組んでおりますが、これら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。そのため、当社グループではアカデミアによる研究成果や他社の開発品について共同開発を行う等、開発パイプラインの拡充に努めております。開発パイプラインの拡充実績として、2018年にカナダのVasomune社との共同開発契約を締結したTie2受容体アゴニストがあり、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)として現在米国において前期第Ⅱ相臨床試験を実施中です。

今後も、アカデミアとの協業並びに提携先との共同開発等により、開発パイプラインの拡充を目指してまいります。

また、事業基盤の拡大としては、既に海外で販売されている医薬品で、日本国内では販売されていない医薬品を日本において製造販売承認を取得し販売することや、希少遺伝性疾患の治療に必要な各種検査を受託する事業等による実現を目指しております。事業基盤の拡大実績としては、2022年5月に米国のバイオ医薬品企業Eiger BioPharmaceuticals, Inc.(以下、「Eiger社」といいます。)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、2024年1月に同省から製造販売承認を取得いたしました。また、希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査を受託しているACRLでは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おります。

今後も、ライセンス導入や希少遺伝性疾患への取組み等による事業基盤の拡大を図り、開発パイプラインの拡充をおして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。

提携状況につきましては、NF- κ 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から臨床試験費用の一部負担等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。また、HGF遺伝子治療用製品に関しましては、その高い有効性への期待からFDAからブレイクスルー・セラピー(画期的新薬)に指定されたことを生かし、欧米地域を中心にグローバル展開を行っていくことができるパートナーとの提携を検討しております。

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、この課題に取り組んでおります。2024年9月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第45回新株予約権(第三者割当て)を発行し、2025年6月末日までに51億97百万円(新株予約権発行に伴う入金を含む)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45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、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連結財務諸表には反映しておりません。

2. 中間連結財務諸表及び主な注記

(1) 中間連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (2024年12月31日)	当中間連結会計期間 (2025年6月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	1,707,756	2,908,302
売掛金	85,235	119,313
商品	224,803	179,060
原材料及び貯蔵品	1,204,382	1,265,796
前渡金	65,547	51,397
前払費用	69,532	134,757
未収消費税等	175,447	60,386
その他	9,903	9,940
流動資産合計	3,542,608	4,728,955
固定資産		
有形固定資産		
建物	220,509	226,009
減価償却累計額	△141,951	△145,716
建物(純額)	78,558	80,293
工具、器具及び備品	212,358	219,549
減価償却累計額	△116,029	△137,236
工具、器具及び備品(純額)	96,328	82,312
有形固定資産合計	174,887	162,605
無形固定資産		
ソフトウェア	9,661	8,644
無形固定資産合計	9,661	8,644
投資その他の資産		
投資有価証券	441,804	409,868
敷金及び保証金	97,672	96,652
長期貸付金	-	15,000
繰延税金資産	401,016	363,769
その他	948	671
投資その他の資産合計	941,441	885,961
固定資産合計	1,125,990	1,057,211
資産合計	4,668,599	5,786,167

(単位:千円)

	前連結会計年度 (2024年12月31日)	当中間連結会計期間 (2025年6月30日)
負債の部		
流動負債		
買掛金	307,944	233,008
未払金	306,991	327,841
未払費用	32,809	34,827
事業構造改革引当金	166,182	144,915
未払法人税等	681,828	713,058
前受金	639,500	639,500
預り金	14,172	11,368
リース債務	163,853	162,258
流動負債合計	2,313,283	2,266,778
固定負債		
繰延税金負債	25,584	16,114
資産除去債務	64,544	64,601
リース債務	108,595	36,534
固定負債合計	198,724	117,250
負債合計	2,512,007	2,384,028
純資産の部		
株主資本		
資本金	37,255,887	39,151,452
資本剰余金	5,502,588	7,398,338
利益剰余金	△46,514,594	△50,480,661
自己株式	△39	△39
株主資本合計	△3,756,157	△3,930,909
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	47,444	25,867
為替換算調整勘定	5,760,964	7,229,755
その他の包括利益累計額合計	5,808,409	7,255,623
新株予約権	104,339	77,424
純資産合計	2,156,591	3,402,138
負債純資産合計	4,668,599	5,786,167

(2) 中間連結損益計算書及び中間連結包括利益計算書

中間連結損益計算書

(単位：千円)

	前中間連結会計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)	当中間連結会計期間 (自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)
事業収益		
商品売上高	151,940	142,587
製品売上高	11,623	-
手数料収入	107,832	272,391
研究開発事業収益	76,180	-
事業収益合計	347,576	414,978
事業費用		
売上原価	199,826	254,939
研究開発費	2,245,721	1,555,940
販売費及び一般管理費	3,009,988	1,004,567
事業費用合計	5,455,536	2,815,447
営業損失(△)	△5,107,959	△2,400,469
営業外収益		
受取利息	2,457	9,309
為替差益	1,916,143	-
補助金収入	27,916	-
受取手数料	3,172	2,882
雑収入	-	832
営業外収益合計	1,949,690	13,024
営業外費用		
株式交付費	30,358	19,060
投資事業組合運用損	1,765	801
為替差損	-	1,491,248
営業外費用合計	32,124	1,511,110
経常損失(△)	△3,190,393	△3,898,555
特別利益		
新株予約権戻入益	3,096	-
特別利益合計	3,096	-
特別損失		
事業構造改革費用	230,711	-
特別損失合計	230,711	-
税金等調整前中間純損失(△)	△3,418,009	△3,898,555
法人税、住民税及び事業税	43,709	60,307
法人税等調整額	38,751	7,204
法人税等合計	82,461	67,511
中間純損失(△)	△3,500,471	△3,966,066
親会社株主に帰属する中間純損失(△)	△3,500,471	△3,966,066

中間連結包括利益計算書

(単位：千円)

	前中間連結会計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)	当中間連結会計期間 (自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)
中間純損失(△)	△3,500,471	△3,966,066
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	32,358	△21,577
為替換算調整勘定	934,806	1,468,790
その他の包括利益合計	967,165	1,447,213
中間包括利益	△2,533,305	△2,518,853
(内訳)		
親会社株主に係る中間包括利益	△2,533,305	△2,518,853
非支配株主に係る中間包括利益	-	-

(3) 中間連結キャッシュ・フロー計算書

(単位:千円)

	前中間連結会計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)	当中間連結会計期間 (自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税金等調整前中間純損失(△)	△3,418,009	△3,898,555
減価償却費	23,414	26,304
のれん償却額	1,668,731	-
受取利息	△2,457	△9,309
為替差損益(△は益)	△1,896,578	1,446,065
投資事業組合運用損益(△は益)	1,765	801
株式交付費	30,328	19,060
株式報酬費用	3,611	243
新株予約権戻入益	△3,096	-
事業構造改革費用	91,997	-
売上債権の増減額(△は増加)	△173,904	△34,078
棚卸資産の増減額(△は増加)	263,389	△15,671
仕入債務の増減額(△は減少)	△163,052	△66,764
前渡金の増減額(△は増加)	△16,381	14,150
未払又は未収消費税等の増減額	△195,854	115,096
未払金の増減額(△は減少)	△194,497	29,025
未払費用の増減額(△は減少)	3,653	4,537
事業構造改革引当金の増減額(△は減少)	△310,270	△7,420
前受金の増減額(△は減少)	650	-
その他の流動資産の増減額(△は増加)	23,677	△67,267
その他の固定資産の増減額(△は増加)	-	646
その他の流動負債の増減額(△は減少)	35,701	47,993
その他の固定負債の増減額(△は減少)	△5,374	△73,108
小計	△4,232,554	△2,468,249
利息の受取額	2,457	9,306
法人税等の支払額	△21,701	△18,190
営業活動によるキャッシュ・フロー	△4,251,798	△2,477,133
投資活動によるキャッシュ・フロー		
拘束性預金の預入による支出	△51,232	△12,304
有形固定資産の取得による支出	△16,575	△12,943
投資有価証券の取得による支出	△7,000	-
長期貸付けによる支出	-	△15,000
敷金及び保証金の回収による収入	3,265	-
投資活動によるキャッシュ・フロー	△71,541	△40,247
財務活動によるキャッシュ・フロー		
新株予約権の行使による株式の発行による収入	533,142	3,748,336
ストックオプションの行使による収入	12	0
自己株式の取得による支出	△2	-
新株予約権の発行による収入	15,915	-
転換社債型新株予約権付社債の発行による収入	1,300,000	-
新株予約権の買入消却による支出	△5,807	-
財務活動によるキャッシュ・フロー	1,843,260	3,748,337
現金及び現金同等物に係る換算差額	79,340	△37,886
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△2,400,738	1,193,069
現金及び現金同等物の期首残高	4,092,160	1,627,669
現金及び現金同等物の中間期末残高	1,691,421	2,820,739

(4) 中間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HGF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、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。米国の良好な臨床試験結果を踏まえて、戦略的な観点から2024年6月に申請を一旦取り下げ、販売も終了いたしました。一方、米国での後期第Ⅱ相臨床試験は2024年6月に良好な結果が得られ、同年9月に米国FDAからブレイクスルー・セラピー(画期的新薬)に指定され、2024年11月の米国心臓病学会において臨床試験の主導医師からトップラインデータが発表されました。これらの状況から、米国での製品化を最優先とし、最短での製造販売承認を目指し米国での開発に注力しております。

椎間板性腰痛症向けの核酸医薬NF- κ 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月から日本国内における第Ⅱ相臨床試験を開始し、予定どおり症例登録を実施しております。

これら開発中の医薬品について、今後も優先順位を明確にし、開発速度を最大限に高めながら進めてまいります。

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において、上記プロジェクトのように遺伝子医薬や核酸医薬等、新しい分野の医薬品開発に取り組んでおりますが、これら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。そのため、当社グループではアカデミアによる研究成果や他社の開発品について共同開発を行う等、開発パイプラインの拡充に努めております。開発パイプラインの拡充実績として、2018年にカナダのVasomune社との共同開発契約を締結したTie2受容体アゴニストがあり、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)として現在米国において前期第Ⅱ相臨床試験を実施中です。

今後も、アカデミアとの協業並びに提携先との共同開発等により、開発パイプラインの拡充を目指してまいります。

また、事業基盤の拡大としては、既に海外で販売されている医薬品で、日本国内では販売されていない医薬品を日本において製造販売承認を取得し販売することや、希少遺伝性疾患の治療に必要な各種検査を受託する事業等による実現を目指しております。事業基盤の拡大実績としては、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、2024年1月に同省から製造販売承認を取得いたしました。また、希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査を受託しているACRLでは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おります。

今後も、ライセンス導入や希少遺伝性疾患への取組み等による事業基盤の拡大を図り、開発パイプラインの拡充をとおして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により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。

提携状況につきましては、NF- κ 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から臨床試験費用の一部負担等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。また、HGF遺伝子治療用製品に関しましては、その高い有効性への期待からFDAからブレイクスルー・セラピー(画期的新薬)に指定されたことを生かし、欧米地域を中心にグローバル展開を行っていくことができるパートナーとの提携を検討しております。

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、この課題に取り組んでおります。2024年9月にCantor Fitzgerald Europeを割当先とした第45回新株予約権(第三者割当て)を発行し、2025年6月末日までに51億97百万円(新株予約権発行に伴う入金を含む)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45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、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)

前中間連結会計期間(自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)

当社は、2024年1月1日から2024年6月30日までの間に、従業員からストックオプションの権利行使、BofA証券から新株予約権の権利行使、Cantor Fitzgerald Europeから転換社債型新株予約権付社債及び新株予約権の権利行使による払込みを受けました。この結果、資本金及び資本剰余金がそれぞれ936,210千円増加し、当中間連結会計期間末において資本金が35,990,100千円、資本剰余金が4,401,780千円となっております。

当中間連結会計期間(自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)

当社は、2025年1月1日から2025年6月30日までの間に、Cantor Fitzgerald Europeから新株予約権の権利行使による払込みを受けました。この結果、資本金及び資本剰余金がそれぞれ1,895,564千円増加し、当中間連結会計期間末において資本金が39,151,452千円、資本剰余金が7,398,338千円となっております。

(セグメント情報等の注記)

【セグメント情報】

I 前中間連結会計期間(自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

II 当中間連結会計期間(自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

(重要な後発事象)

1. 新株予約権の行使

当社が発行いたしました第45回新株予約権につき、2025年7月1日から2025年8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	49,475個(発行総数の3.83%)
交付株式数	4,947,500株
行使価額総額	284,442千円
未行使新株予約権個数	233,201個
増加する発行済株式数	4,947,500株
資本金増加額 ※1、2	143,136千円
資本剰余金増加額 ※1、2	143,136千円

※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915千円がそれぞれ含まれております。

※2. 上記の新株予約権の行使による新株の発行の結果、2025年8月7日現在の発行済株式総数は362,757,450株、資本金は39,294,589千円、資本剰余金は7,541,475千円となっております。