2020 年2月 25 日

会社名　窪田製薬ホールディングス株式会社
コード番号 4596　東証マザーズ
住　所　東京都千代田区霞が関 3-7-1
霞が関東急ビル 4F
代表者名　代表執行役会長、社長兼最高経営責任者
窪田　良
問合せ先　取締役兼執行役最高財務責任者
前川　裕貴
（TEL：03-6550-8928（代表））

＜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。

○開催状況

開催日時	2020年2月25日　15:00～16:00
開催方法	対面による実開催
開催場所	コンファレンススクウェアM+（エムプラス）　1Fサクセス 千代田区丸の内2-5-2　三菱ビル
説明会資料名	窪田製薬ホールディングス株式会社　2019年度12月期決算説明資料

【添付資料】

投資説明会において使用した資料

※この書面(添付資料を含む。)は、有価証券上場規程施行規則第427条に基づき、公衆縦覧に供されます。

Kubota

2019年12月期
通期決算説明会配布資料

2020年2月25日

免責事項

'

本資料は関係情報の開示のみを目的として作成されたものであり、有価証券の取得または売付けの勧誘または申込みを構成するものではありません。本資料は、正確性を期すべく慎重に作成されていますが、完全性を保証するものではありません。また本資料の作成にあたり、当社に入手可能な第三者情報に依拠しておりますが、かかる第三者情報の実際の正確性および完全性について、当社が表明・保証するものではありません。当社は、本資料の記述に依拠したことにより生じる損害について一切の責任を負いません。また本資料の情報は、事前の通知なく変更される可能性があります。

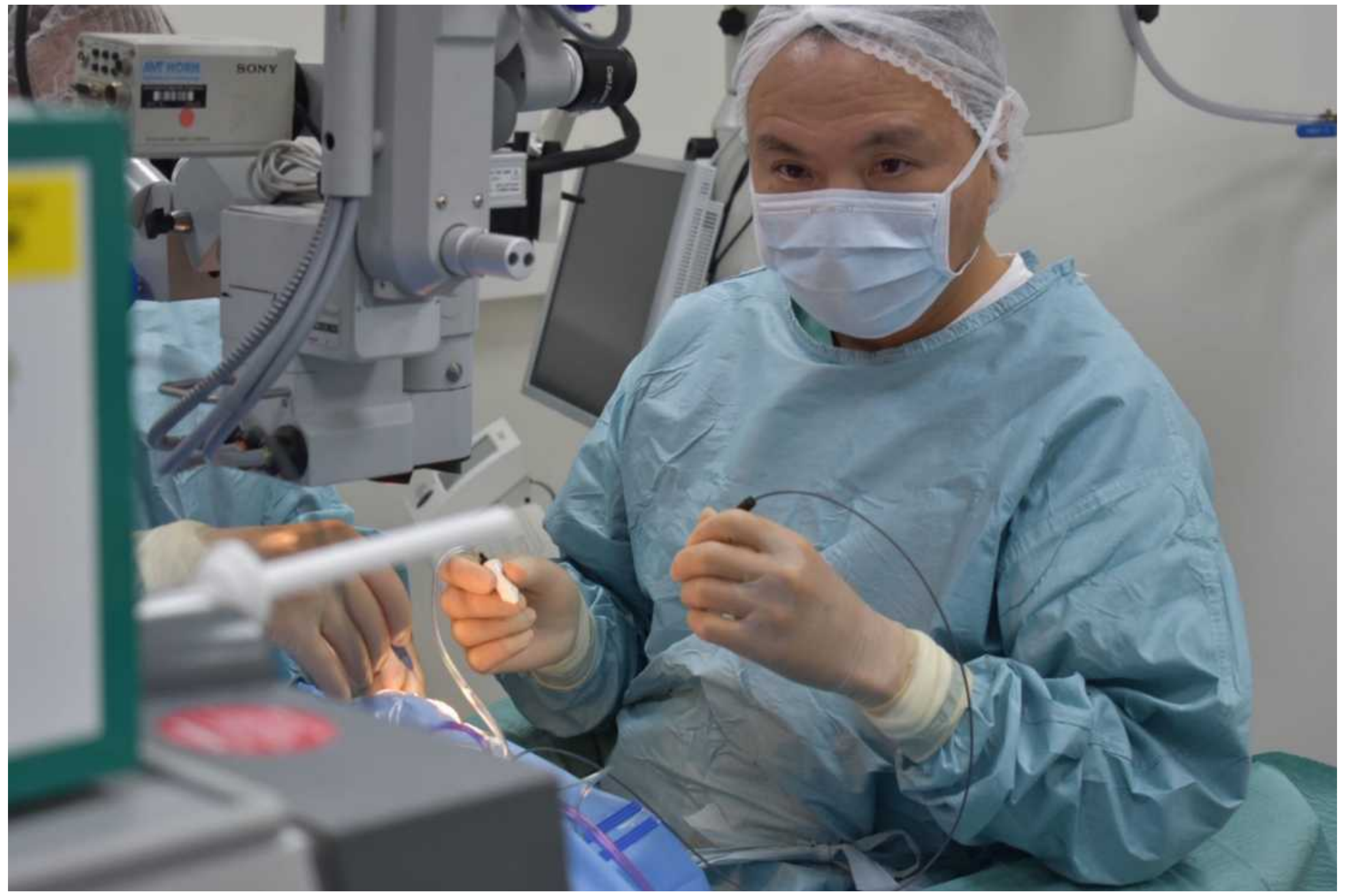
本資料には将来予想に関する見通し情報が含まれます。これらの記述は、現在の見込、予測およびリスクを伴う想定（一般的な経済状況および業界または市場の状況を含みますがこれらに限定されません）に基づいており、実際の業績とは大きく異なる可能性があります。今後、新たな情報、将来の事象の発生またはその他いかなる理由があっても、当社は本資料の将来に関する記述を更新または修正する義務を負うものではありません。

会社概要

窪田製薬グループ

世界中で眼疾患に悩む皆さまの視力維持と回復に貢献する、
最先端のサイエンスを基に眼科領域に医療革新をもたらす企業

名称	窪田製薬ホールディングス株式会社 （英名　Kubota Pharmaceutical Holdings, Co., Ltd.）
設立	2015年12月
所在地	東京都千代田区霞が関3-7-1　霞が関東急ビル 4F
代表者	代表執行役会長、社長兼最高経営責任者　窪田 良 MD, PhD
子会社	アキュセラ・インク（米国ワシントン州シアトル市）



2002年４月	アキュセラ・インクを設立（米国ワシントン州シアトル市）
2006年３月	本社および研究所を米国ワシントン州ボセル市に移転
2006年８月	東京都品川区に東京オフィスを開設
2013年９月	東京都渋谷区に東京オフィスを移転
2014年２月	東京証券取引所マザーズ市場へ外国企業として上場
2015年12月	東京都渋谷区に国内子会社設立
2016年12月	国内子会社を親会社、アキュセラ・インクを完全子会社とする三角合併を経て、 窪田製薬ホールディングス株式会社が、内国企業として東京証券取引所マザーズ市場へテクニカル上場

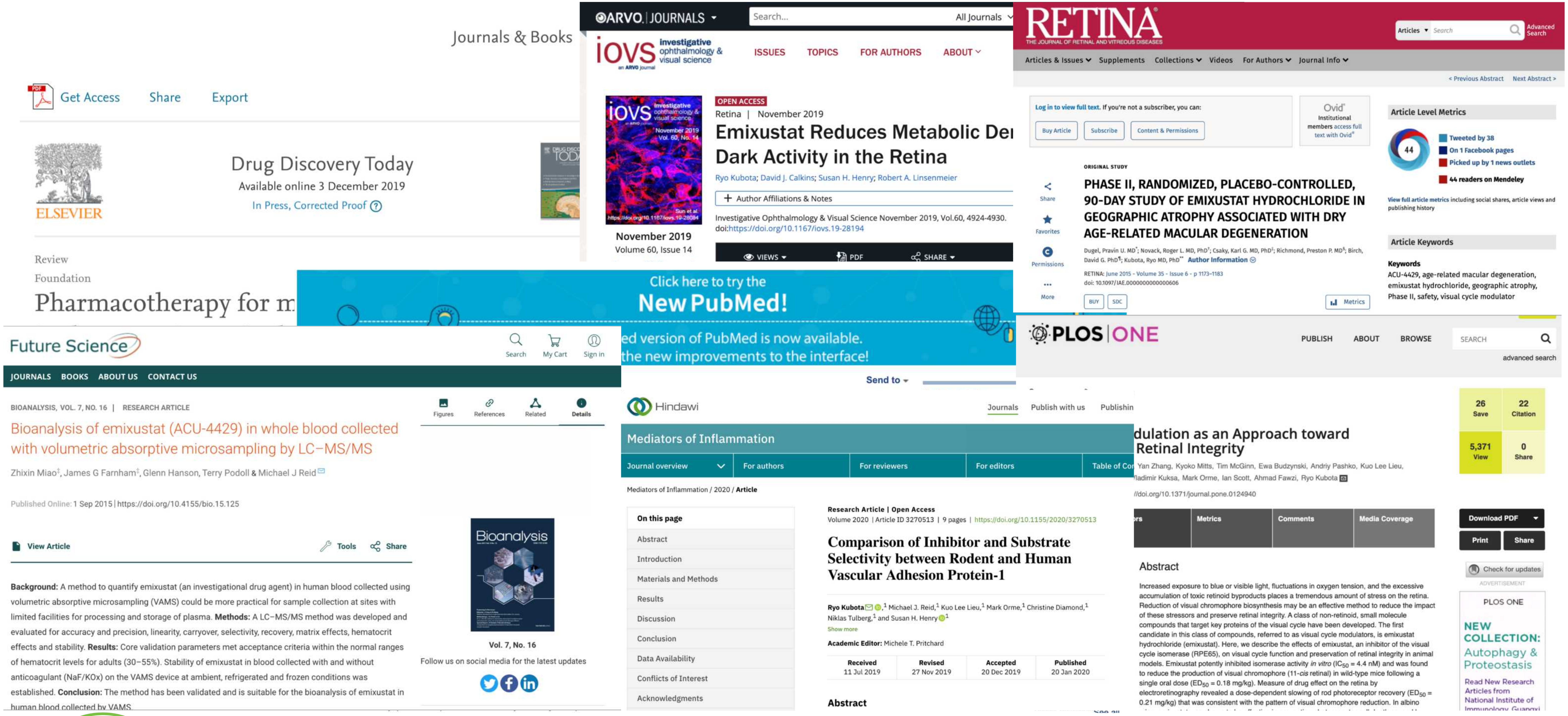
メディア掲載実績

Kubota

メディア掲載実績


6:47
東京 29℃ 31℃ 31℃ 28℃
挑戦
"宇宙飛行士の目 守れ"
NASA認める日本企業
17年前 ベンチャー企業立ち上げ
医療機器開発に取り組む
おはよう日本
Kubota

論文実績


Journals & Books
Get Access
Share
Export
ELSEVIER
Drug Discovery Today
Available online 3 December 2019
In Press, Corrected Proof
Review
Foundation
Pharmacotherapy for m
ARVO | JOURNALS
iOVS investigative ophthalmology & visual science
ISSUES
TOPICS
FOR AUTHORS
ABOUT
OPEN ACCESS
Retina | November 2019
Emixustat Reduces Metabolic De
Dark Activity in the Retina
Ryo Kubota; David J. Calkins; Susan H. Henry; Robert A. Linsenmeier
Author Affiliations & Notes
Investigative Ophthalmology & Visual Science November 2019, Vol.60, 4924-4930. doi:https://doi.org/10.1167/iovs.19-28194
November 2019
Volume 60, Issue 14
RETINA
THE JOURNAL OF RETINAL AND VITREOUS DISEASES
ORIGINAL STUDY
PHASE II, RANDOMIZED, PLACEBO-CONTROLLED, 90-DAY STUDY OF EMIXUSTAT HYDROCHLORIDE IN GEOGRAPHIC ATROPHY ASSOCIATED WITH DRY AGE-RELATED MACULAR DEGENERATION
RETINA: June 2015 - Volume 35 - Issue 6 - p 1173–1183
Article Level Metrics
Article Keywords
Keywords
ACU-4429, age-related macular degeneration, emixustat hydrochloride, geographic atrophy, Phase II, safety, visual cycle modulator
Click here to try the
New PubMed!
ed version of PubMed is now available.
the new improvements to the interface!
Future Science
JOURNALS
BOOKS
ABOUT US
CONTACT US
BIOANALYSIS, VOL. 7, NO. 16 | RESEARCH ARTICLE
Bioanalysis of emixustat (ACU-4429) in whole blood collected with volumetric absorptive microsampling by LC–MS/MS
Zhixin Miao, James G Farnham, Glenn Hanson, Terry Podoll & Michael J Reid
Published Online: 1 Sep 2015 | https://doi.org/10.4155/bio.15.125
Background: A method to quantify emixustat (an investigational drug agent) in human blood collected using volumetric absorptive microsampling (VAMS) could be more practical for sample collection at sites with limited facilities for processing and storage of plasma. Methods: A LC–MS/MS method was developed and evaluated for accuracy and precision, linearity, carryover, selectivity, recovery, matrix effects, hematocrit effects and stability. Results: Core validation parameters met acceptance criteria within the normal ranges of hematocrit levels for adults (30–55%). Stability of emixustat in blood collected with and without anticoagulant (NaF/KOx) on the VAMS device at ambient, refrigerated and frozen conditions was established. Conclusion: The method has been validated and is suitable for the bioanalysis of emixustat in human blood collected by VAMS.
Bioanalysis
Vol. 7, No. 16
Hindawi
Mediators of Inflammation
Mediators of Inflammation / 2020 / Article
Research Article | Open Access
Volume 2020 | Article ID 3270513 | 9 pages | https://doi.org/10.1155/2020/3270513
Comparison of Inhibitor and Substrate Selectivity between Rodent and Human Vascular Adhesion Protein-1
Ryo Kubota, Michael J. Reid, Kuo Lee Lieu, Mark Orme, Christine Diamond, Niklas Tulberg, and Susan H. Henry
Academic Editor: Michele T. Pritchard
Received 11 Jul 2019
Revised 27 Nov 2019
Accepted 20 Dec 2019
Published 20 Jan 2020
PLOS ONE
dulation as an Approach toward Retinal Integrity
Yan Zhang, Kyoko Mitts, Tim McGinn, Ewa Budzynski, Andriy Pashko, Kuo Lee Lieu, Vladimir Kuksa, Mark Orme, Ian Scott, Ahmad Fawzi, Ryo Kubota
/doi.org/10.1371/journal.pone.0124940
Abstract
Increased exposure to blue or visible light, fluctuations in oxygen tension, and the excessive accumulation of toxic retinoid byproducts places a tremendous amount of stress on the retina. Reduction of visual chromophore biosynthesis may be an effective method to reduce the impact of these stressors and preserve retinal integrity. A class of non-retinoid, small molecule compounds that target key proteins of the visual cycle have been developed. The first candidate in this class of compounds, referred to as visual cycle modulators, is emixustat hydrochloride (emixustat). Here, we describe the effects of emixustat, an inhibitor of the visual cycle isomerase (RPE65), on visual cycle function and preservation of retinal integrity in animal models.

特許（医薬品開発）

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(15/121283)
US
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.831

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
3110433
Europe
Full
Granted on July 10, 2019
Feb 24, 2035
35218-640.611

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(19184888.6)
Europe
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.6111

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(2016-553887)
Japan
Full
Granted on May 15, 2019
Feb 24, 2035
35218-640.761

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(2019-072106)
Japan
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.7611

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(2015800154125)
China
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.711

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(1120160194322)
Brazil
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.691

Treatment of retinal degeneration using gene therapy
Optogenetics
(2016017028928)
India
Full
Pending
Feb 24, 2035
35218-640.741

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
7,982,071
US
Full
Granted on July 19, 2011
Oct 3, 2028
35218-718.201

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
8,981,153
US
Full
Granted on Mar 17, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.301

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
8,993,807
US
Full
Granted on Mar 31, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.302

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
9,079,825
US
Full
Granted on July 14, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.303

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
9,458,088
US
Full
Granted on October 4, 2016
Oct 3, 2028
35218-718.305

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
9,737,496
US
Full
Granted on Aug 22, 2017
Oct 3, 2028
35218-718.307

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
10,188,615
US
Full
Granted on Jan 29, 2019
Oct 3, 2028
35218-718.308

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
(16/043,019)
US
Full
Allowed
Oct 3, 2028
35218-718.309

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
J/001682
US
Full
Granted on Jul 3, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.371

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
2091955
Europe
Full – validated in DE, FR, UK, ES, IT
Granted on Dec 7, 2016
Oct 3, 2028
35218-718.611

Alkoxyphenylpropylamines for the treatment of age related macular degeneration
Emixustat
3210966
Europe
Full – validated in DE, FR, UK, ES, IT
Granted on Jan 8, 2020
Oct 3, 2028
35218-718.6111

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
PI 0818496-8
Brazil
Full
Pending
Oct 3, 2028
35218-718.691

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
2,701,116
Canada
Full
Granted on Feb 5, 2013
Oct 3, 2028
35218-718.701

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
200880119621.4
China
Full
Granted on Nov 27, 2013
Oct 3, 2028
35218-718.711

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
201310507844.0
China
Full
Granted on Jan 7, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.7111

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
291697
India
Full
Granted on Jan 12, 2018
Oct 3, 2028
35218-718.741

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
5913805
Japan
Full
Granted on Apr 8, 2016
Oct 3, 2028
35218-718.761

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
5898758
Japan
Full
Granted on Mar 11, 2016
Oct 3, 2028
35218-718.7612

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
306062
Mexico
Full
Granted on Dec 13, 2012
Oct 3, 2028
35218-718.781

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
337100
Mexico
Full
Granted on Feb 11, 2016
Oct 3, 2028
35218-718.782

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
354184
Mexico
Full
Granted on Feb 16, 2018
Oct 3, 2028
35218-718.783

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
354184
Mexico
Full
Granted on Feb 16, 2018
Oct 3, 2028
35218-718.783

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
HK1129328
Hong Kong
Full
Granted on Aug 19, 2011
Oct 3, 2028
35218-718.891

Alkoxy compounds for disease treatment
Emixustat
HK1192219
Hong Kong
Full
Granted on Jul 24, 2015
Oct 3, 2028
35218-718.892

Pharmacology of visual cycle modulators
Emixustat
10,471,027
US
Full
Granted on Nov 12, 2019
Jul 2, 2029
35218-728.201

Pharmacology of visual cycle modulators
Emixustat
(16/664,179)
US
Full
Pending
Jul 2, 2029
35218-728.301

Pharmacology of visual cycle modulators
Emixustat
(10794836.6)
Europe
Full
Pending
Jul 2, 2029
35218-728.611

Pharmacology of visual cycle modulators
Emixustat
5860398
Japan
Full
Granted on Dec 25, 2015
Jul 2, 2029
35218-728.761

Pharmacology of visual cycle modulators
Emixustat
6118886
Japan
Full
Granted on Mar 31, 2017
Jul 2, 2029
35218-728.7611

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(13784718.2)
Europe
Full
Allowed
May 3, 2033
35218-746.611

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(1120140275718)
Brazil
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.691

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(2,872,433)
Canada
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.701

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(201710706410.1)
China
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.7111

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(9886/DELNP/2014)
India
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.741

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(2019-187273)
Japan
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.7612

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(MX/a/2014/013341)
Mexico
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.781

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
9,957,224
US
Full
Granted on May 1, 2018
May 3, 2033
35218-746.201

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(15/967,080)
US
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.301

Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy
Emixustat
(18106035.4)
Hong Kong
Full
Pending
May 3, 2033
35218-746.892

Inhibitors of VAP-1
VAP-1
(PCT/US2019/053481)
PCT
Full
Pending
Sept 28, 2038
35218-788.601

Inhibitors of VAP-1
VAP-1
(PCT/US2019/053487)
PCT
Full
Pending
Sept 28, 2038
35218-795.601

成立特許	29件
申請中	19件
合計	48件

特許（医療機器開発）

81166415
10583.001AU1
35218-774.681
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
AU
2017382218
81166416
10583.001CA1
35218-774.701
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
CA
3048197
81166417
10583.001CN1
35218-774.711
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
CN
2017800867901
81166418
10583.001EP1
35218-774.611
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
EP
17884340.5
81166414
10583.001JP1
35218-774.761
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
JP
2019-534703
81140201
10583.001US1
35218-774.301
PBOS
35218-774.301 MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY
US
15/996,329
1165557
10583.002WO1
35218-789.601
PBOS
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
PCT
PCT/US2019/038270

81165159
10583.003WO1
35218-790.601
eSpec/eCL
METHOD AND APPARATUS FOR TREATING REFRACTIVE ERROR OF THE EYE
PCT
PCT/US2019/030682
81165666
10583.005TW1
35218-792.851
eSpec/eCL
DEVICE TO PREVENT RETINAL HYPOXIA
TW
108123829
81165561
10583.005WO1
35218-792.601
eSpec/eCL
DEVICE TO PREVENT RETINAL HYPOXIA
PCT
PCT/US2019/040580
81165764
10583.006TW1
35218-794.851
eSpec/eCL
OPTICAL DESIGNS OF ELECTRONIC CONTACT LENS TO DECREASE MYOPIA PROGRESSION
TW
108127072
81165765
10583.006WO1
35218.794.601
eSpec/eCL
ELECTRONIC CONTACT LENS TO DECREASE MYOPIA PROGRESSION
PCT
PCT/US2019/043692
81167680
10583.007PV1
35218-799.101
PBOS
MOBILE VISION TESTING METHODS AND APPARATUS
US
62/878,626
81172889
10583.007PV2
35218-799.102
PBOS
MOBILE VISION TESTING METHODS AND APPARATUS
US
N/A
81167984
10583.009PV1
35218-798.101
eSpec/eCL
SPECTACLE LENSES WITH NEAR EYE DISPLAYS FOR PREVENTION OF MYOPIA PROGRESSION
US
62/881,123

81168831
10583.009PV2
35218-798.102
eSpec/eCL
SPECTACLE LENSES WITH NEAR EYE DISPLAYS FOR PREVENTION OF MYOPIA PROGRESSION
US
62/885,035
81171663
10583.009PV3
35218.798.103
eSpec/eCL
DEVICE FOR PROJECTING IMAGES ON RETINA
US
62/907,496
81173130
10583.009PV4
35218.798.104
eSpec/eCL
DEVICE FOR PROJECTING IMAGES ON THE RETINA
US
62/925,948
81171052
10583.010PV1
35218-832.101
eSpec/eCL
ASSEMBLY PROCESS FOR AN ELECTRONIC SOFT CONTACT LENS DESIGNED TO INHIBIT PROGRESSION OF MYOPIA
US
62/900,974
81173159
10583.011PV1
35218-833.101
PBOS
FACIAL RECOGNITION AND VISION TESTING
US
62/944,889
81174494
10583.012PV1
N/A
PBOS
DATABASE OF RETINAL PHYSIOLOGY DERIVED FROM OPHTHALMIC MEASUREMENTS PERFORMED BY PATIENTS
US
62/962,478
81178733
10583.012PV2
35218-835.102
N/A
DATABASE OF RETINAL PHYSIOLOGY DERIVED FROM OPHTHALMIC MEASUREMENTS PERFORMED BY PATIENTS
US
N/A
81177109
10583.013US1
35218-834.997
PBOS
OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM
US
29/718,289

81177134
10583.014PV1
35218-835.101
PBOS
OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY PATIENT ALIGNMENT SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS
US
62/953,827
81178712
10583.015PV1
tbd
PBOS
LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM SUITABLE FOR HOME USE
US
62/962,516

成立特許	6件
申請中	17件
申請予定	2件
合計	25件

Kubota

眼科領域の革新的な技術をリードするために世界各国で研究開発を実施

- 本社
  - 東京
  - ワシントン州シアトル
- PBOS
  - スイス、ベルン スロベニア、イドリア
- エミクススタト塩酸塩
  - カリフォルニア州ビバリーヒルズ
  - カリフォルニア州サンフランシスコ、94143-0730
  - ジョージア州アトランタ、30322
  - メリーランド州ボルチモア
  - ミシガン州アナーバー
  - ミネソタ州ロチェスター
  - ニューヨーク、ニューヨーク
  - ノースカロライナ州ダーラム
  - オレゴン州ポートランド
  - テキサス州ダラス
  - ソルトレイクシティ
  - ウィスコンシン州ミルウォーキー
  - カナダ、オンタリオ州トロント
  - デンマーク
  - フランス、イルドフランス、クレテイユ
  - フランス、パリ、イルドフランス
  - ドイツ、バーデン・ヴュルテンベルク州
  - ドイツ、ボン
  - イタリア、ナポリ、カンパニア
  - イタリア、ローマ、ラツィオ
  - イタリア、ミラノ、ロンバルディア
  - イタリア、ミラノ、ロンバルディア
  - イタリア、フィレンツェ、トスカーナ
  - オランダ、ナイメーヘン、ヘルダーラント
  - 南アフリカ、プレトリア、ハウテン
  - スペイン、マドリード
  - イギリス、オックスフォード、オックスフォードシャー
  - イギリス、ロンドン
  - ブラジル、サンパウロ
  - ブラジル、ベロオリゾンテ

2019年度の主な動き

研究開発

3 月　PBOS：アメリカ航空宇宙局（NASA）と小型光干渉断層計の開発受託契約を締結

6 月　エミクススタト：欧州医薬品庁（EMA）より希少疾患医薬品（オーファンドラッグ）の指定を受ける

財務

3月　2018年4月に発行した新株予約権の行使が全て完了 - 当該新株予約権の行使により、総額約13億円を調達

組織・人事

4月　窪田製薬ホールディングス株式会社：執行役最高財務責任者の前川裕貴氏が取締役に就任

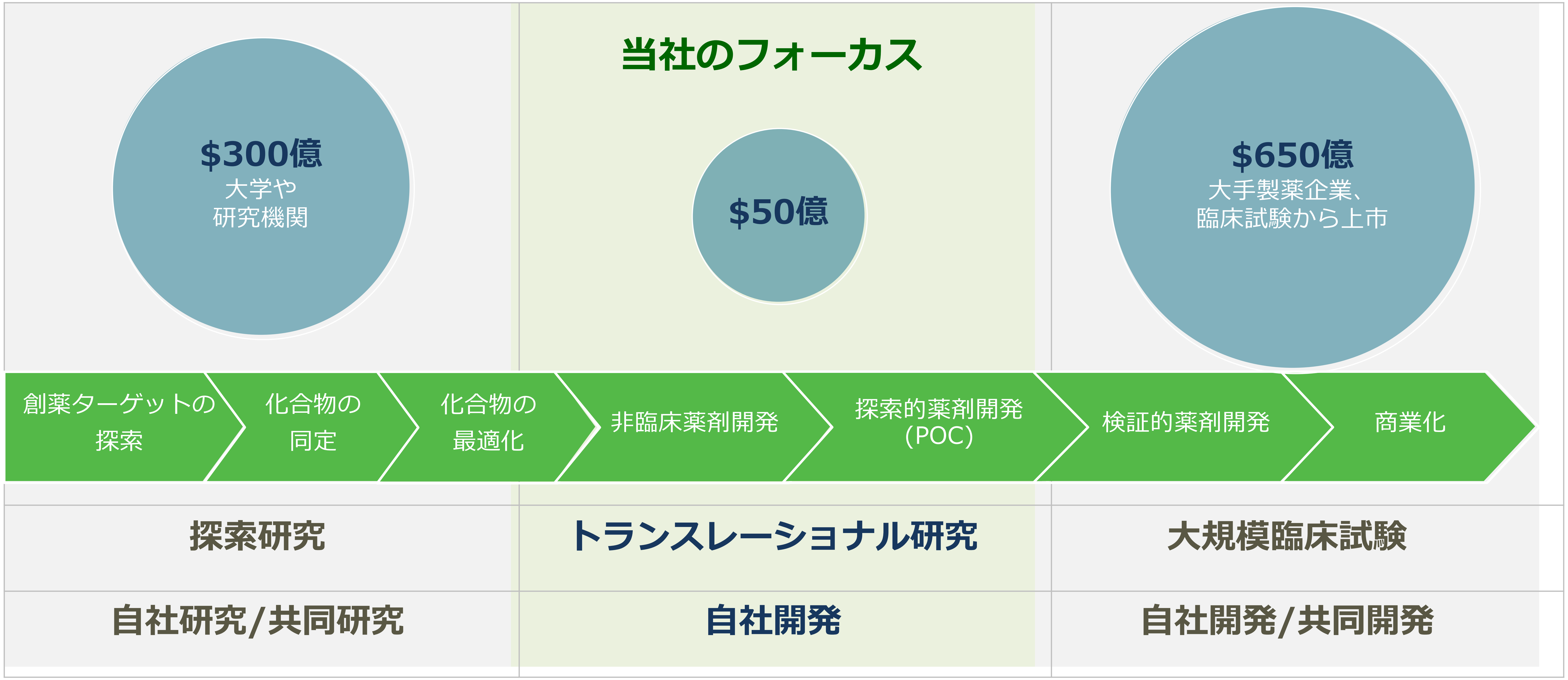
アキュセラ・インク：ロバート・スティーブン氏*が社外取締役に就任

*　シアトルを拠点に医療機器や生物製剤を応用し角膜疾患に有効な治療法を開発するCorneaGen社の最高技術責任者

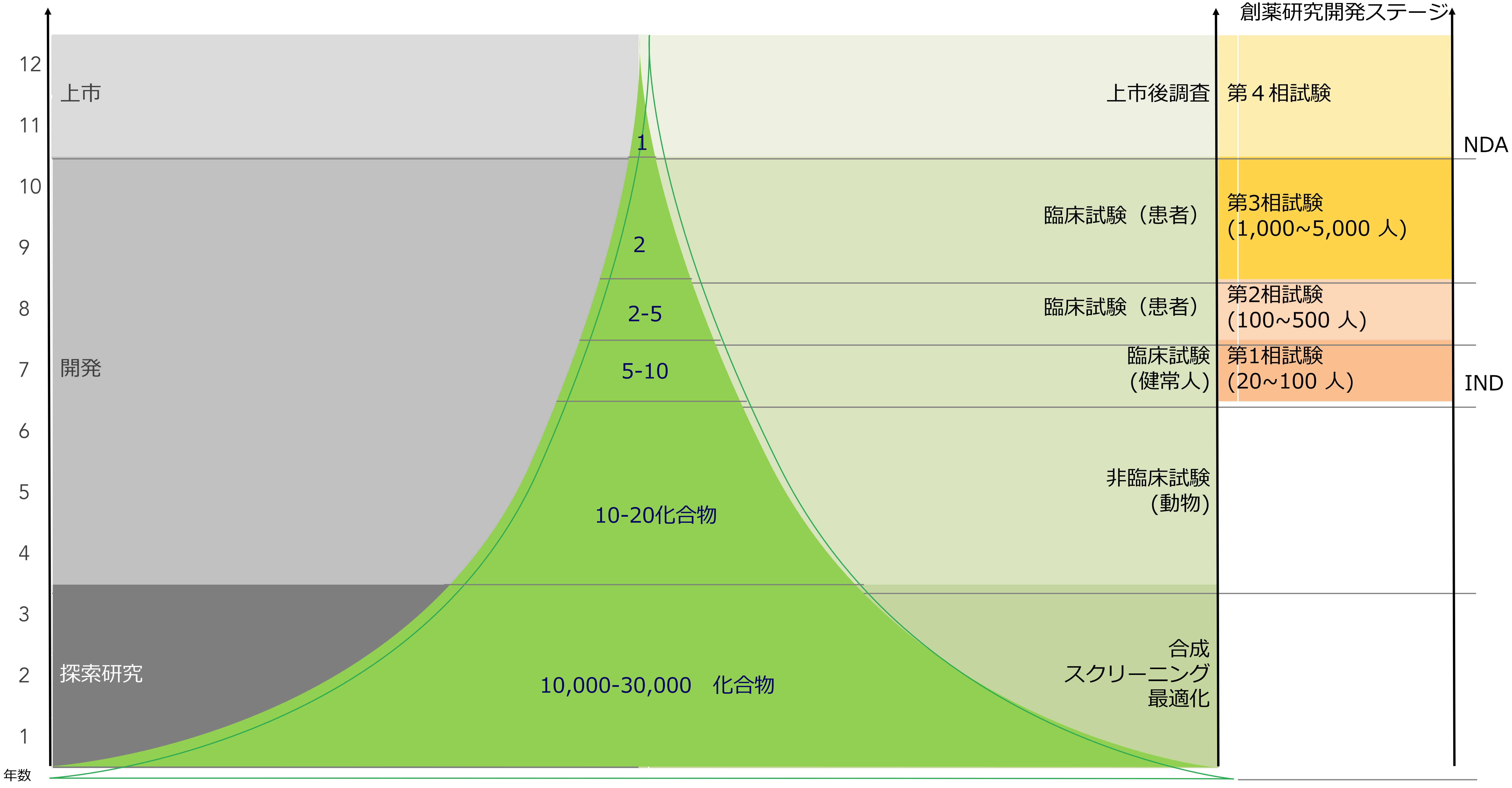
➢ 事業フォーカスと薬剤市場

窪田製薬グループの事業フォーカス

少額投資で収益性の高い研究開発プロジェクトを優先的に選択し、
非臨床・探索的薬剤開発における自社開発の機会創出を目指す



薬剤開発の成功確率

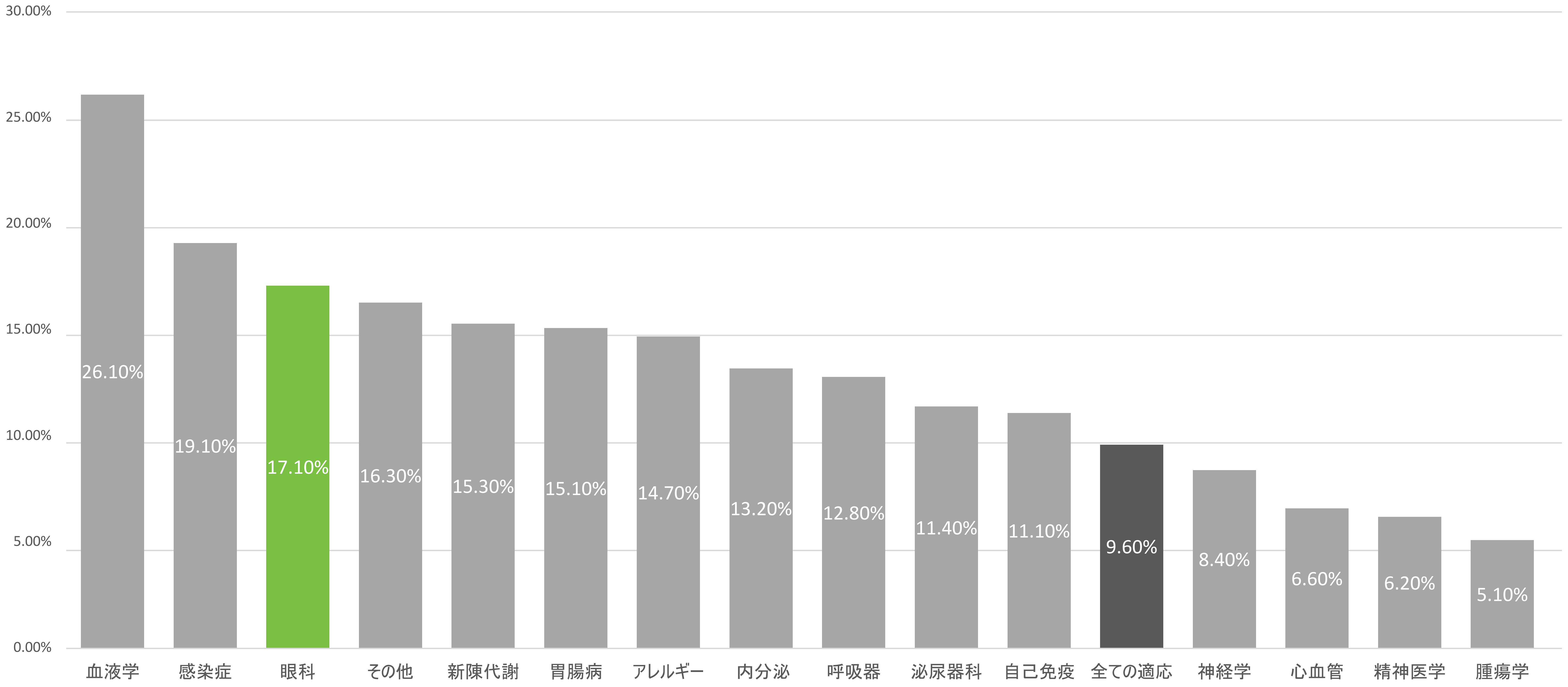


12
11
10
9
8
7
6
5
4
3
2
1
年数
上市
開発
探索研究
1
2
2-5
5-10
10-20化合物
10,000-30,000　化合物
創薬研究開発ステージ
上市後調査
臨床試験（患者）
臨床試験（患者）
臨床試験
(健常人)
非臨床試験
(動物)
合成
スクリーニング
最適化
第４相試験
第3相試験
(1,000~5,000 人)
第2相試験
(100~500 人)
第1相試験
(20~100 人)
NDA
IND

第1相臨床試験から承認に至る確率

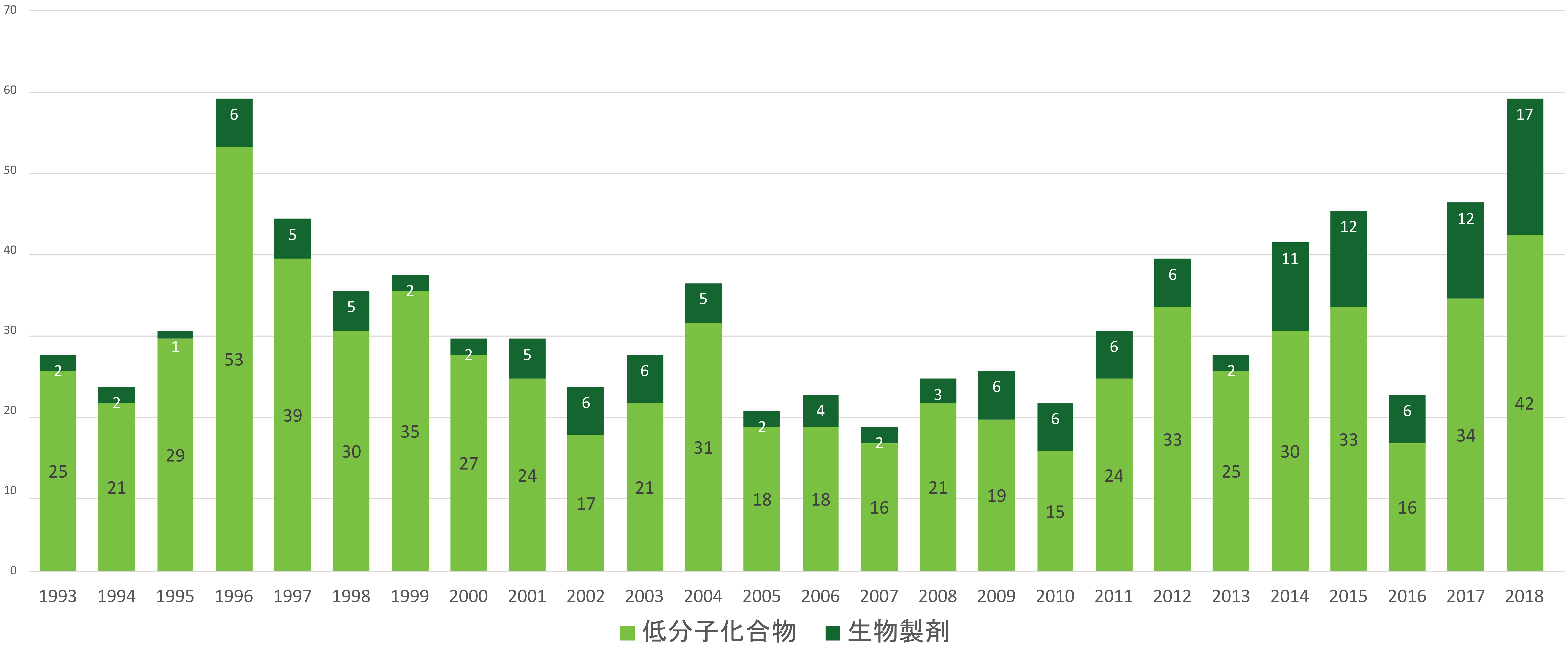
- 21の主要疾患と558の症状の治療を目的とする薬剤の第1相臨床試験において、承認に至る確率をBiotechnology Innovation Organizationが報告

- 9,985の新薬候補のうち、眼科は267剤。全体が9.6%であるのに対し、眼科は17.1%と推定



出典: Informa, Amplion, Biomedtracker and the Biotechnology Innovation Organization (BIO), BIO Industry Analysis, "Clinical Development Success Rates 2006-2015"

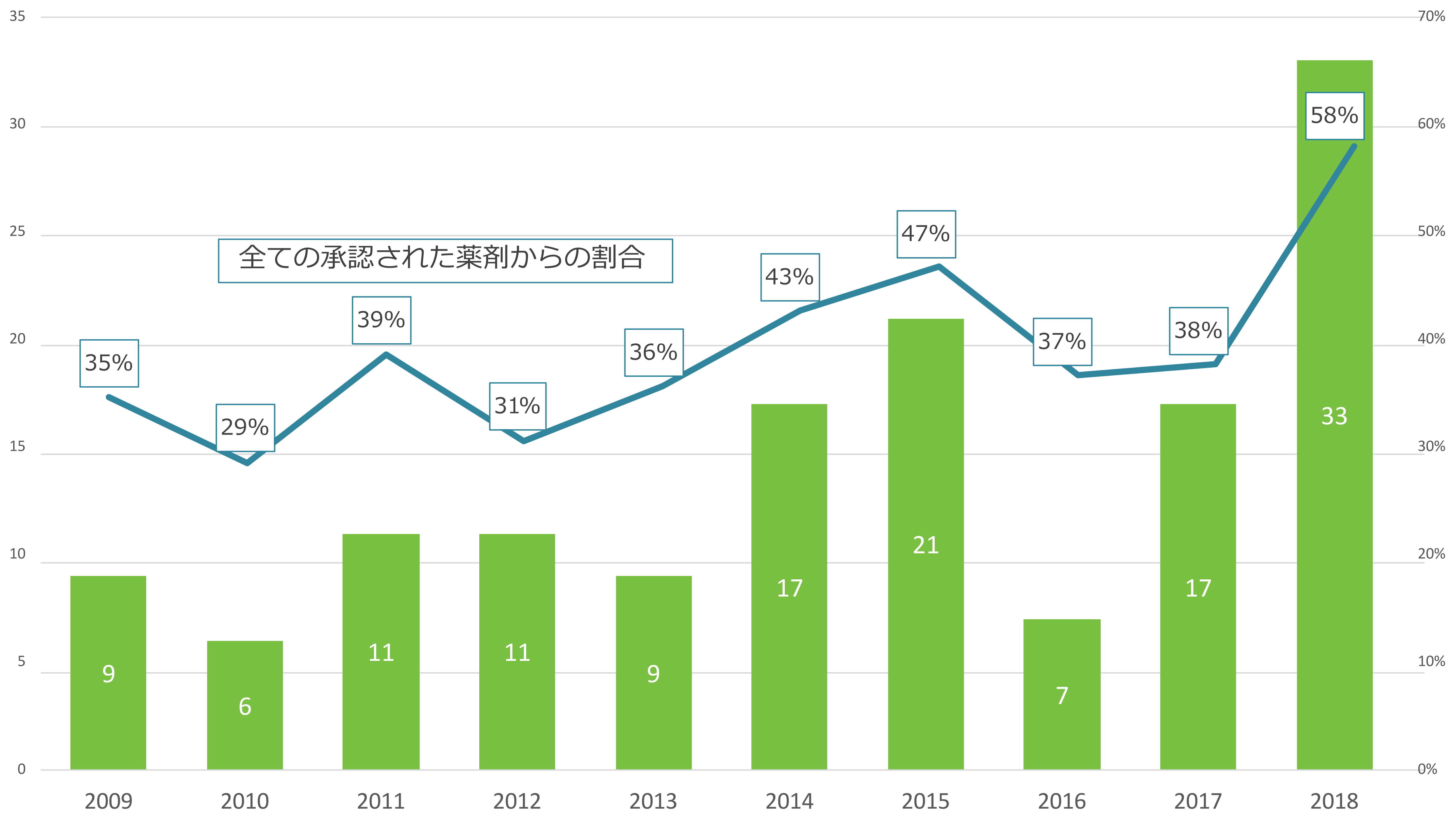
FDAに承認された薬剤数 (1993年以降)



出典: *Nature Reviews*, February 2014, volume 13., no.2., page 86.

2009年から2018年　オーファンドラッグが承認された数

2009年以降、承認されるオーファンドラッグが大幅に増加



出典: FDA, HBM Analysis

➢ 開発パイプライン

研究開発パイプライン

低分子化合物	適応症	前臨床	第１相	第２相	第３相	ターゲット市場
エミクススタト塩酸塩	スターガルト病					全世界
エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症					全世界

遺伝子治療	適応症	前臨床	第１相	第２相	第３相	ターゲット市場
ヒトロドプシン	網膜色素変性					全世界

デバイス	詳細	デザイン 及び プロトタイプ	臨床試験 及び 製品開発	承認・認証 510(k)	ターゲット市場
在宅・遠隔医療モニタリング機器 PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite	超小型モバイルOCT (網膜、光干渉断層撮影機器)				全世界
NASA高解像度デバイス	NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス				全世界

直近のパイプラインの進捗と現状

現在

低分子化合物	適応症	2018年上半期	2018年下半期	2019年上半期	2019年下半期	2020年上半期	2020年下半期
エミクススタト塩酸塩	**スターガルト病**		第３相臨床試験開始	欧州オーファンドラッグ指定		第３相臨床試験被験者登録中間報告	第３相臨床試験被験者登録完了
エミクススタト塩酸塩	**増殖糖尿病網膜症**	第２相臨床試験結果					

遺伝子治療	適応症	2018年以前	2018年上半期	2018年下半期	2019年上半期	2019年下半期	2020年上半期	2020年下半期
ヒトロドプシン	**網膜色素変性**	2016年4月 マンチェスター大学との独占契約を取得						

デバイス	詳細	2018年上半期	2018年下半期	2019年上半期	2019年下半期	2020年上半期	2020年下半期
在宅・遠隔医療モニタリング機器 **PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite**	**超小型モバイルOCT** **(網膜、光干渉断層撮影機器)**	臨床試験開始	臨床試験完了・達成			量産型試作機完成	
NASA高解像度デバイス	**NASA宇宙飛行士** **モニタリングデバイス**			契約締結		フェーズ1完了 フェーズ2申請	

スターガルト病治療薬候補
(エミクススタト塩酸塩)

スターガルト病とは

- 遺伝性の若年性黄斑変性
- 発症原因は、網膜中のABCA4遺伝子の突然変異で、現在、有効な治療法がない
- ABCA4 遺伝子の異常により、
網膜にビタミン A 由来の有害代謝産物が
過剰に蓄積されることで、網膜内の細胞が損傷を受け
最終的には視機能障害をきたすと考えられている

スターガルト病の主な症状

両眼で緩やかに進行する中心暗転、色覚障害、周辺視野に障害をきたすなど
様々な症例があるが、ほとんどの患者の視力は0.1以下に低下

早い人では学童期に発症
徐々に視細胞が損傷されていく

スターガルト病の患者数

- 8千人から１万人に1人の割合で発症する希少疾患

日本　米国　欧州

15万人弱の
患者がいると推定

- 当社のエミクススタトは、
  2017年1月に米国食品医薬品局(FDA)、
  2019年６月に欧州医薬品庁（EMA）よりオーファンドラッグ指定を取得

スターガルト病市場予測

2027年には約1,600億円に達すると報告されている

Global Juvenile Degeneration (Stargardt Disease) Market Research Report- Forecast to 2027

WGR3078026 | 24 December, 2017 | Global | 119 pages | Market Research Future

Description | Table of Content | FREE SAMPLE | Any Question | Get Discount | Reference

Introduction

Juvenile Macular Degeneration is the genetic eye disorder that affects the vision further leading to vision loss. Generally, this disorder affects the specialized light-sensitive tissue present in the retina. Precisely, this type of macular degeneration affects the center of the retina which is knwn as macula. The function of macula is to add sharpness to the central vision. This region is responsible for handling detailed tasks such as recognizing faces, driving, and reading. Most of the people suffering from stargardt macular degeneration, produce a bodily fluid known as lipofuscin, that is responsible for the cellular regeneration underlying the macula. Moreover the over time accumulation of this fluid causes cellular damage. Furthermore, the affected individuals also show the symptoms of color blindness. Usually, the signs and symptoms appear in late childhood which is responsible for disease progression.

Notably, increasing prevalence of eye disorders, development of new drugs and therapies, and emerging government policies are promoting the growth of juvenile macular degeneration market globally. It is observed that the research and development cost for the Stargardt disease is very high leading to the massive prices of the end products.

Despite these drivers, there are some issues associated with juvenile macular degeneration market. Lack of awareness among people may hinder the growth of the market to an extent.

Geographically, Europe region is commanding the largest market share owing to the increasing prevalence of Stargardt disease.

The global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market is expected to reach USD 1593.885 million in 2027 from USD 780.995 million in 2016. This market is expected to grow at a stable CAGR of 6.7% during the forecast period 2017-2027.

Key Players

The key players for the Astellas Pharma Inc., Sanofi S.A., Acucela Inc., Alkeus Pharma, Copernicus Therapeutics, Inc., Ophthotech Corporation, Bayer AG, Oxford BioMedica plc, Grupo Ferrer Internacional, and others

Study objectives

To provide a detailed analysis of the market structure along with a forecast of the various segments and sub-segments of global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market.

• To provide a comprehensive analysis of juvenile macular degeneration industry and its sub-segments in the global market,

The key players for the Astellas Pharma Inc., Sanofi S.A., Acucela Inc., Alkeus Pharma, Copernicus Therapeutics, Inc., Ophthotech Corporation, Bayer AG, Oxford BioMedica plc, Grupo Ferrer Internacional, and others

Study objectives

To provide a detailed analysis of the market structure along with a forecast of the various segments and sub-segments of global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market.

• To provide a comprehensive analysis of juvenile macular degeneration industry and its sub-segments in the global market,
thereby providing a detailed structure of the industry.

• To provide detailed insights into the factors driving and restraining the growth of global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market.

• To estimate the market size of global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) from 2014 to 2027. Wherein, 2014 & 2015 would be the historical period, 2016 shall be the base year, and 2017 – 2027 will be forecast period for the study.

• To analyze global juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market, on the basis of four main geographies namely, Europe, Americas, Asia-Pacific, and The Middle East & Africa.

• To compare the products with respect to the various players in the market

• To provide country-wise market value analysis for various segments of juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market

• To understand the demand-supply scenario and provide a gap analysis of the industry

• To analyze and provide upcoming technologies and trends in juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market

• To provide strategic profiling of key companies (manufacturers and distributors) present across the globe, and comprehensively analyze their competitiveness/competitive landscape in this market.

Target Audience

• Pharmaceutical and Biotech Industries
• Potential Investors
• Medical Research Institutes
• Key Executive (CEO and COO) and Strategy Growth Manager
• Research Companies

Key Findings

• the major players operating in this market are Acucela Inc., Ophthotech Corporation, Sanofi S.A., Lin BioScience, Inc., Alkeus Pharma, Carl Zeiss AG, and others.

• Fluorescein Angiography (FA) dominates the juvenile macular degeneration (Stargardt disease) market with a share of 34.6%, as compared to other diagnosis types.

• On the basis of management, the market for magnifying spectacles is projected to reach USD 597.642 million by the end of 2027 at a CAGR of 7.0%, during 2017 to 2027.

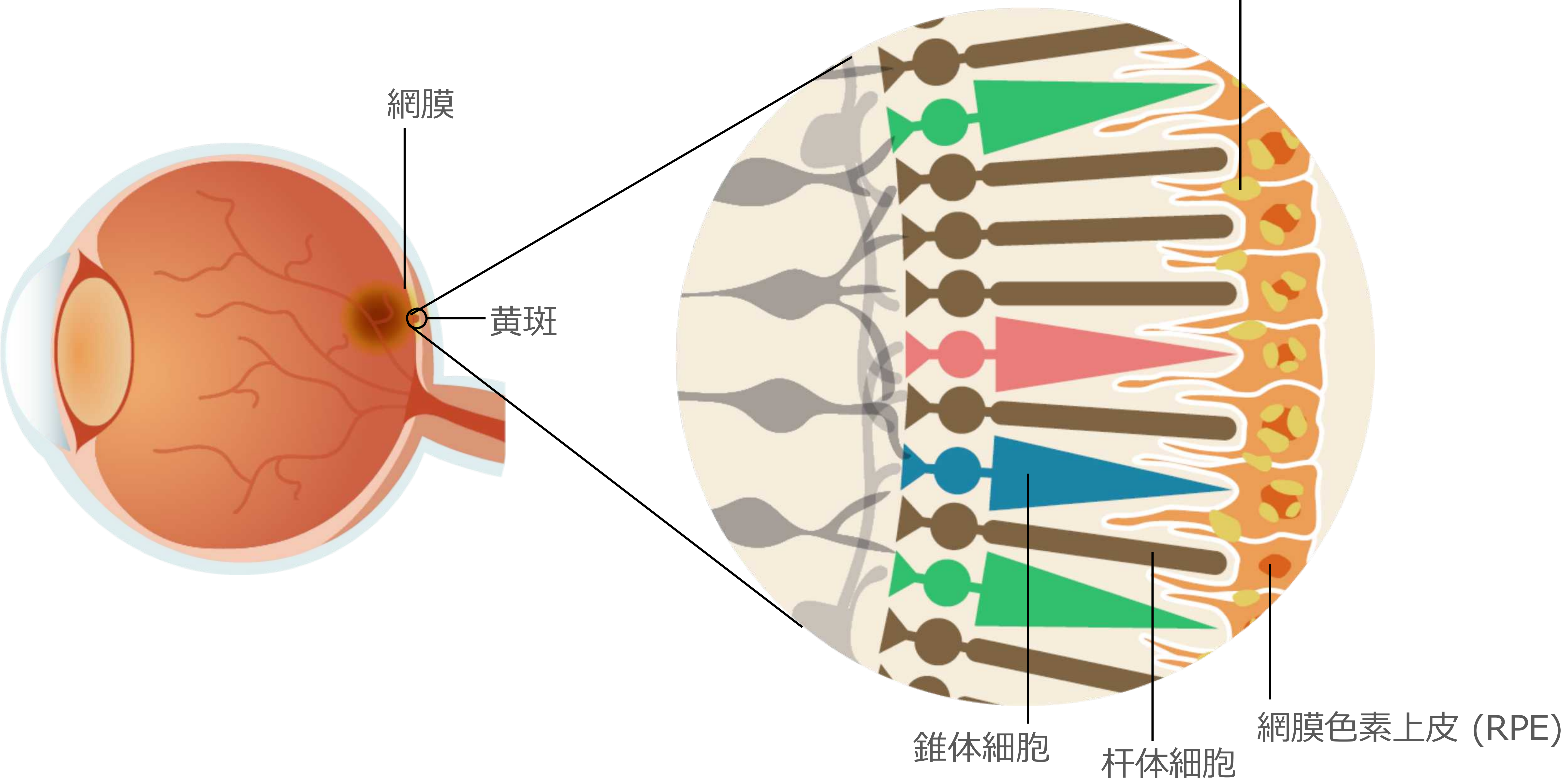
• On the basis of the end-user, hospitals, and eye clinics accounted for the largest market share with 62.2% of the global juvenile macular degeneration market

• On the basis of region, Asia-Pacific region is projected to be the fastest growing region at a CAGR of 7.3%, during the

出典: WISEGUY RESEARCH CONSULTANTS PVT LTD Global Juvenile Degeneration (Stargardt Disease) Market Research Report- Forecast to 2027

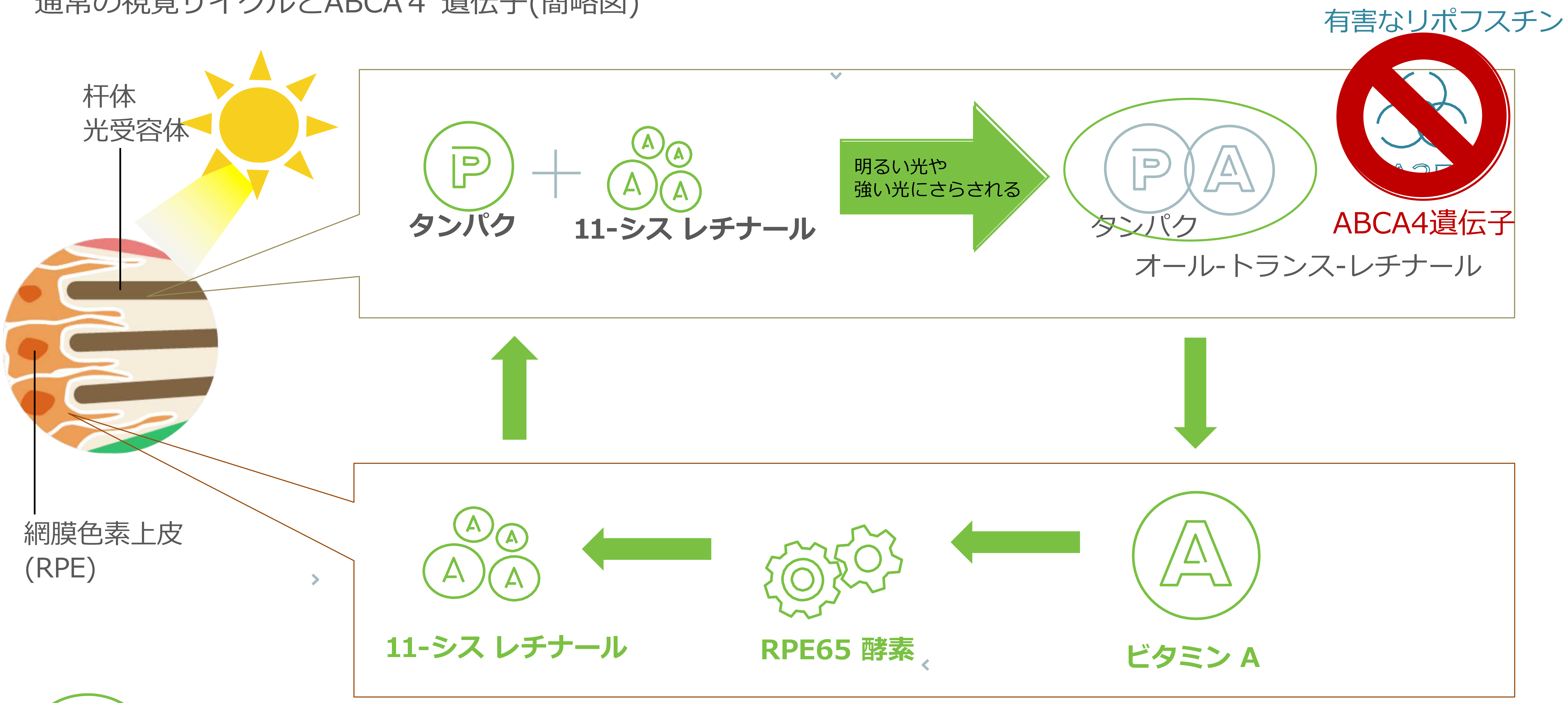
スターガルト病の原因

視覚情報を電気信号として伝える網膜



スターガルト病の原因

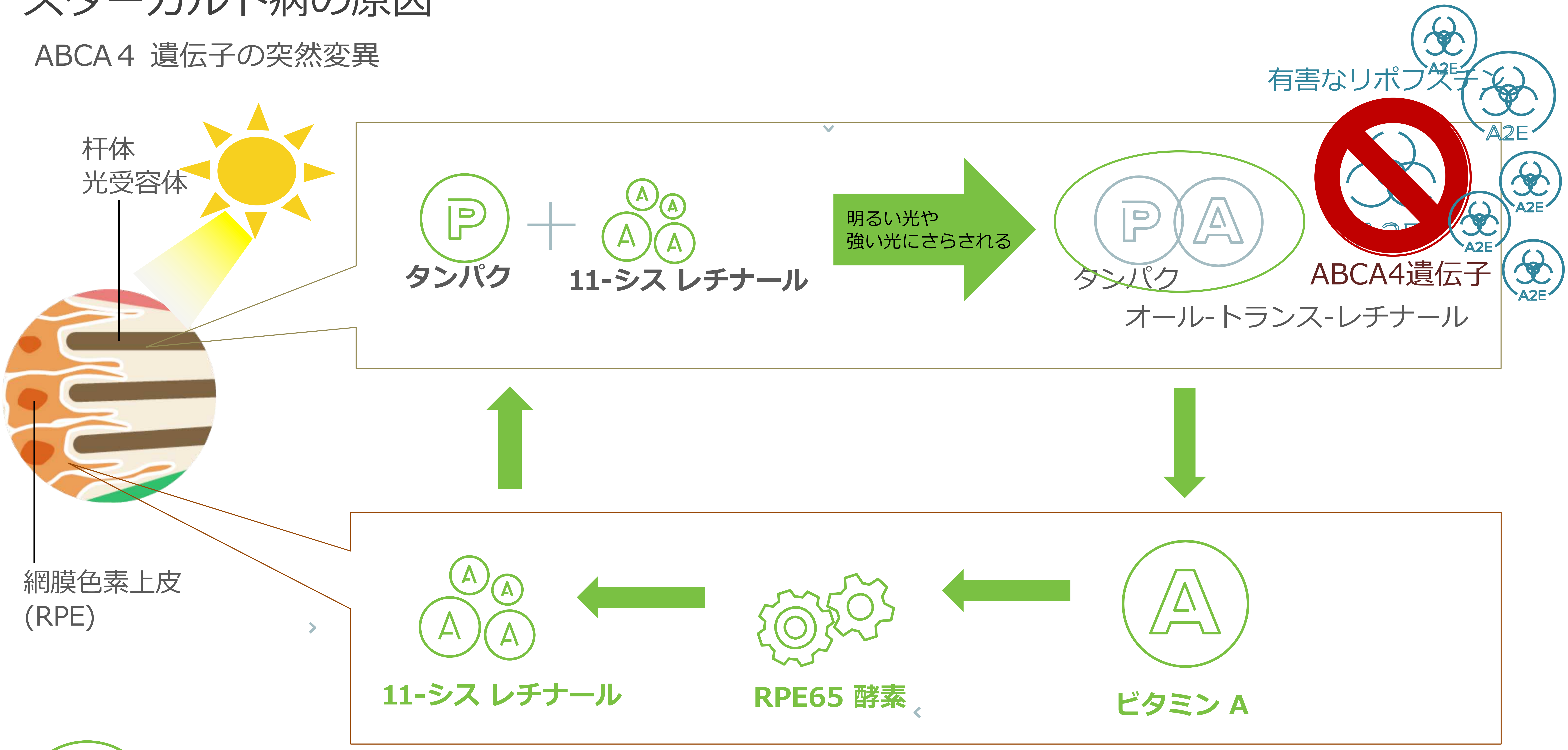
通常の視覚サイクルとABCA４ 遺伝子(簡略図)



Kubota

スターガルト病の原因

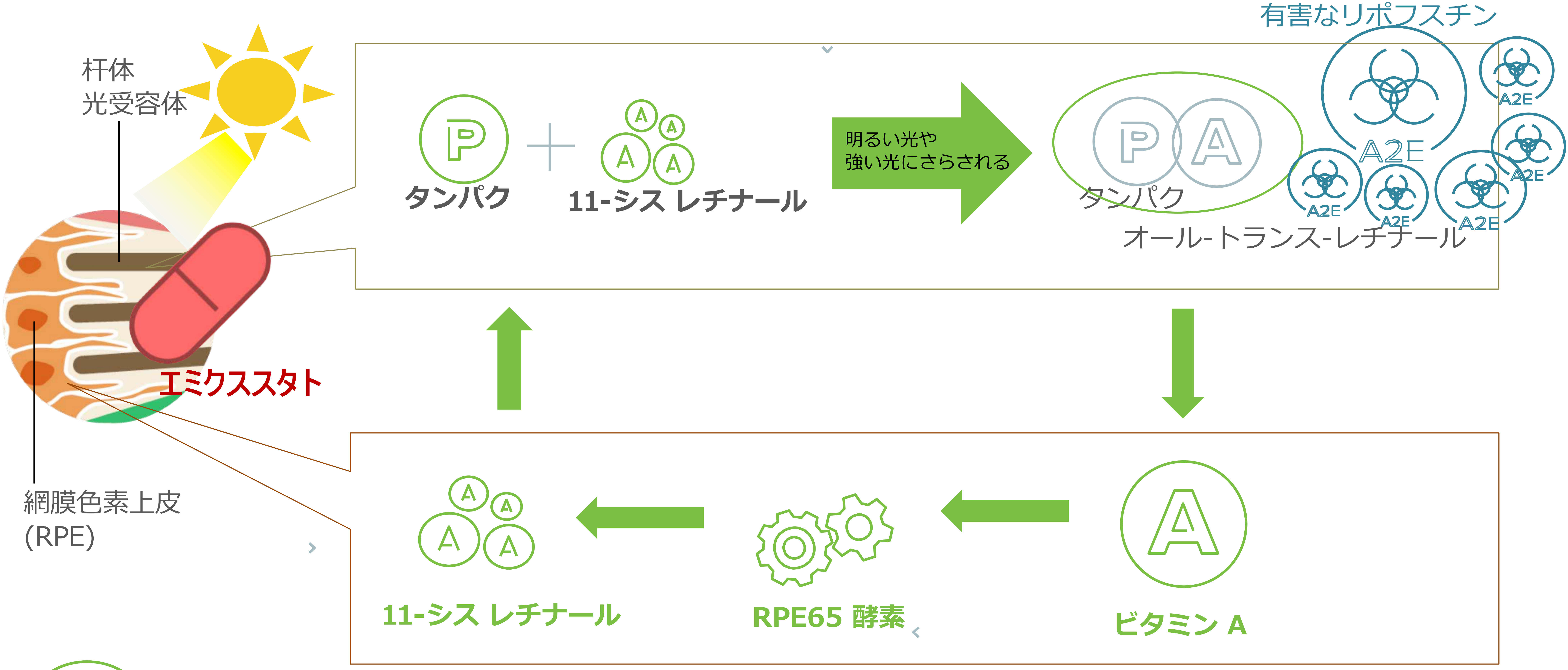
ABCA４ 遺伝子の突然変異



スターガルト病の原因

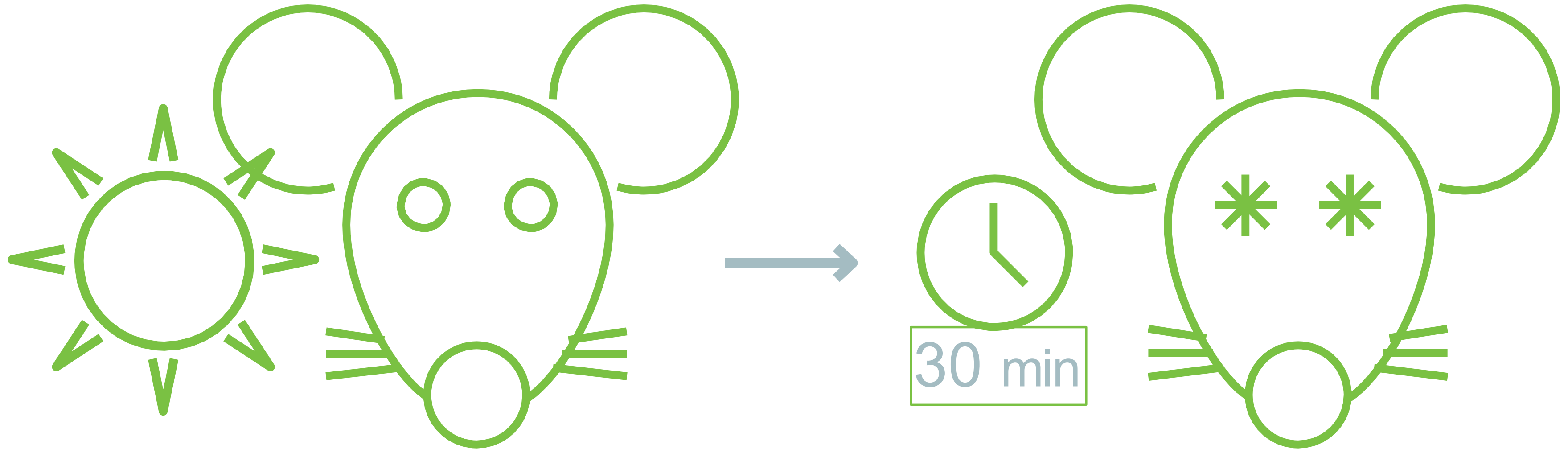
エミクススタト塩酸塩の作用機序

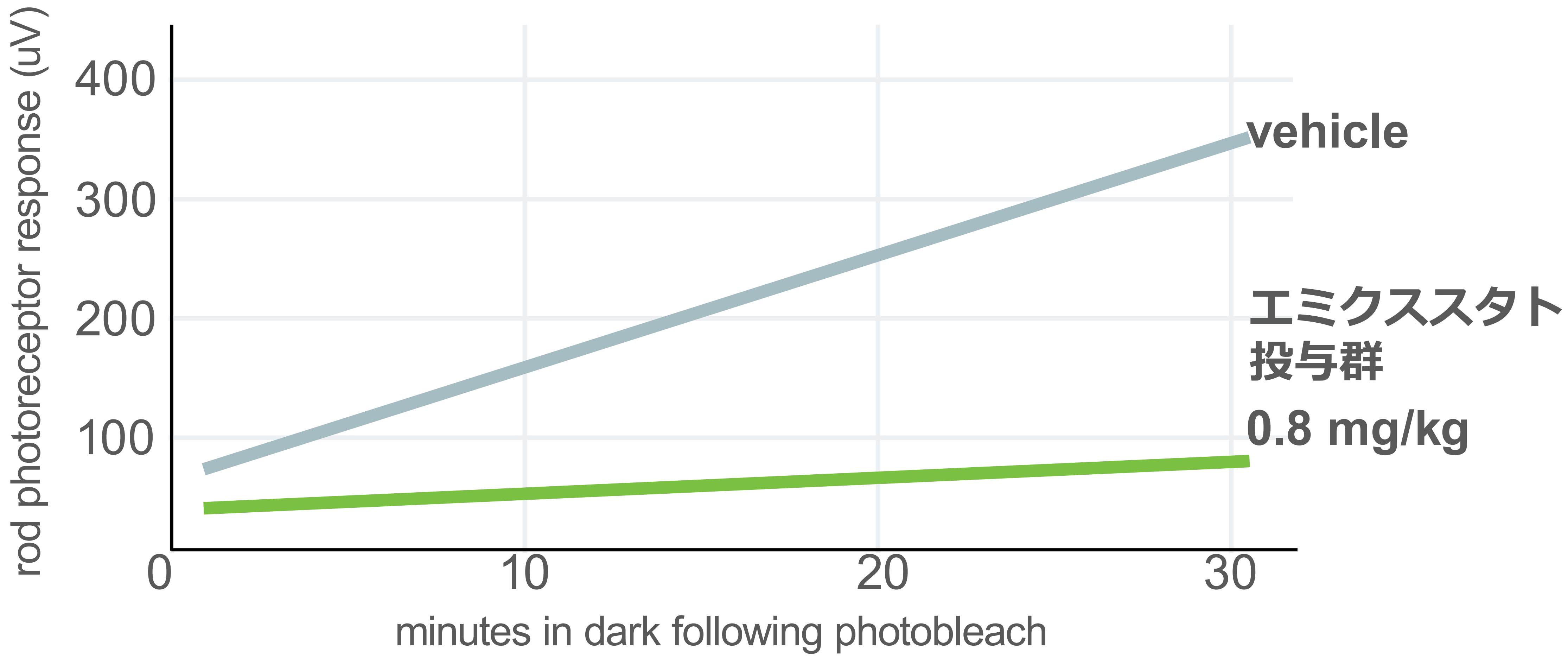
エミクススタトは視覚サイクル中の重要な酵素であるRPE65を選択的に阻害することで視覚サイクルによって生じる老廃物を減らす効果があり、本疾患の抑制が期待される



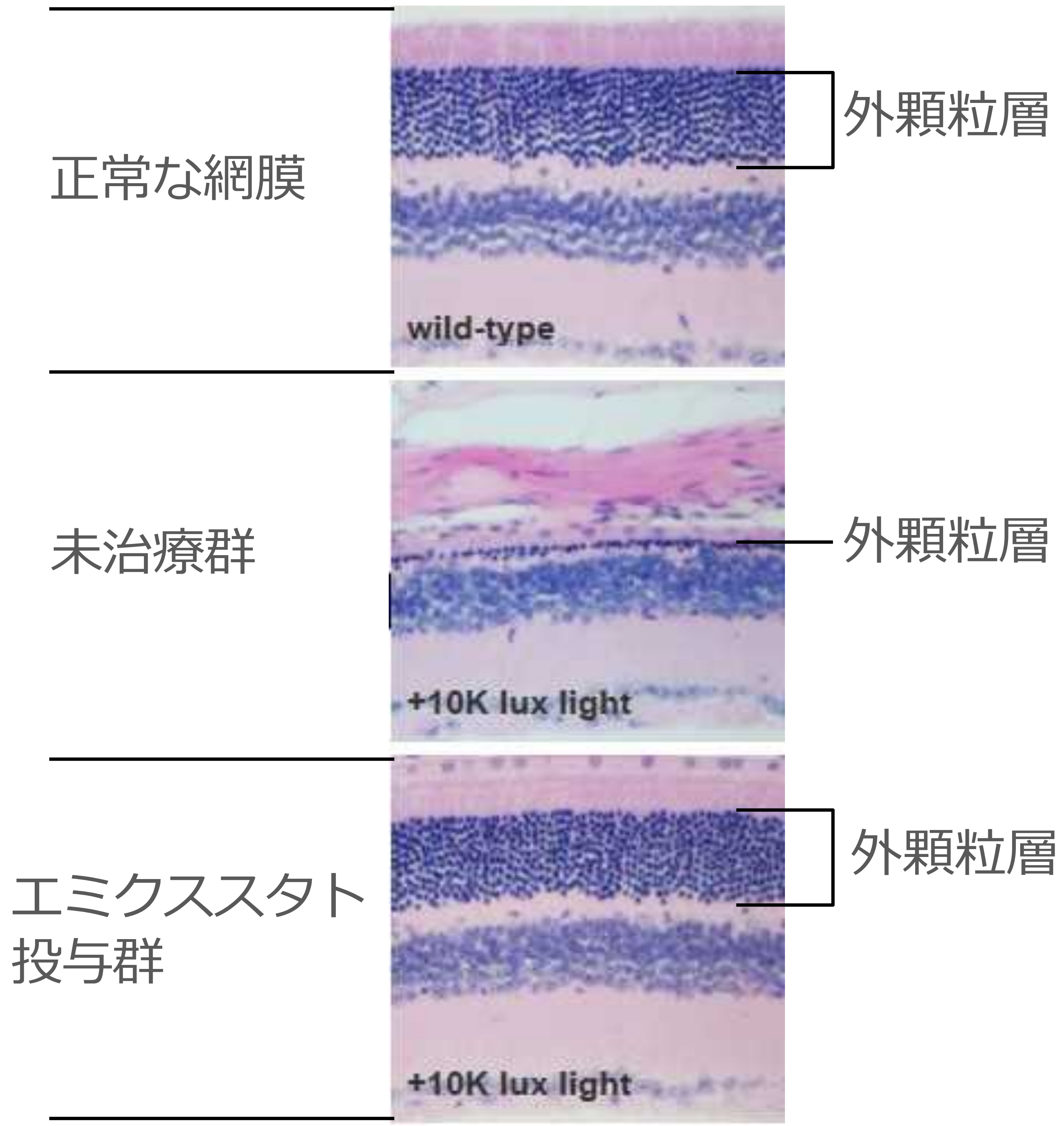
エミクススタトは 11-シス レチナールの産生と光障害を抑制

杆体細胞の光受容体機能の回復を用量依存的に抑制したことを網膜電図で計測



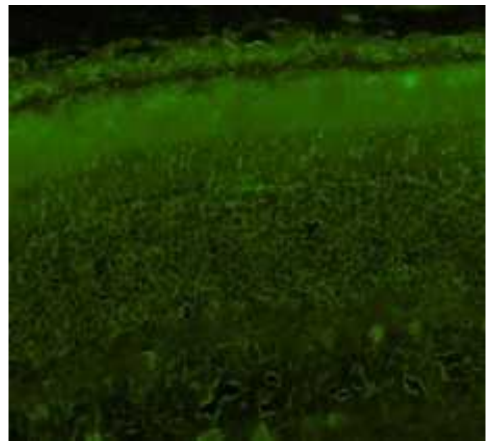


網膜保護作用
（マウス光障害モデル）

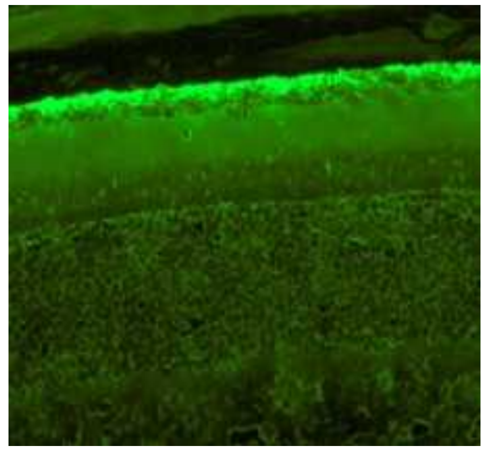


エミクススタトによる有害なビタミンA代謝物A2Eの減少効果

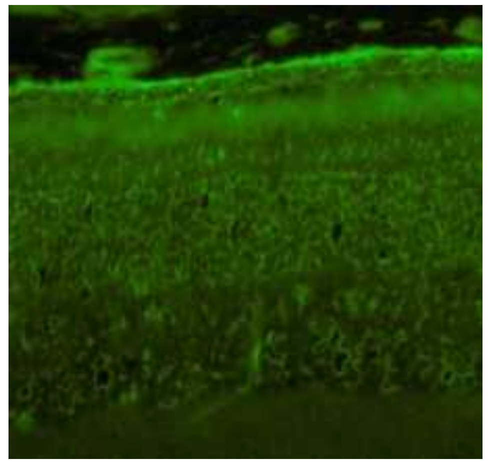
A2E／リポフスチンの減少



正常な網膜

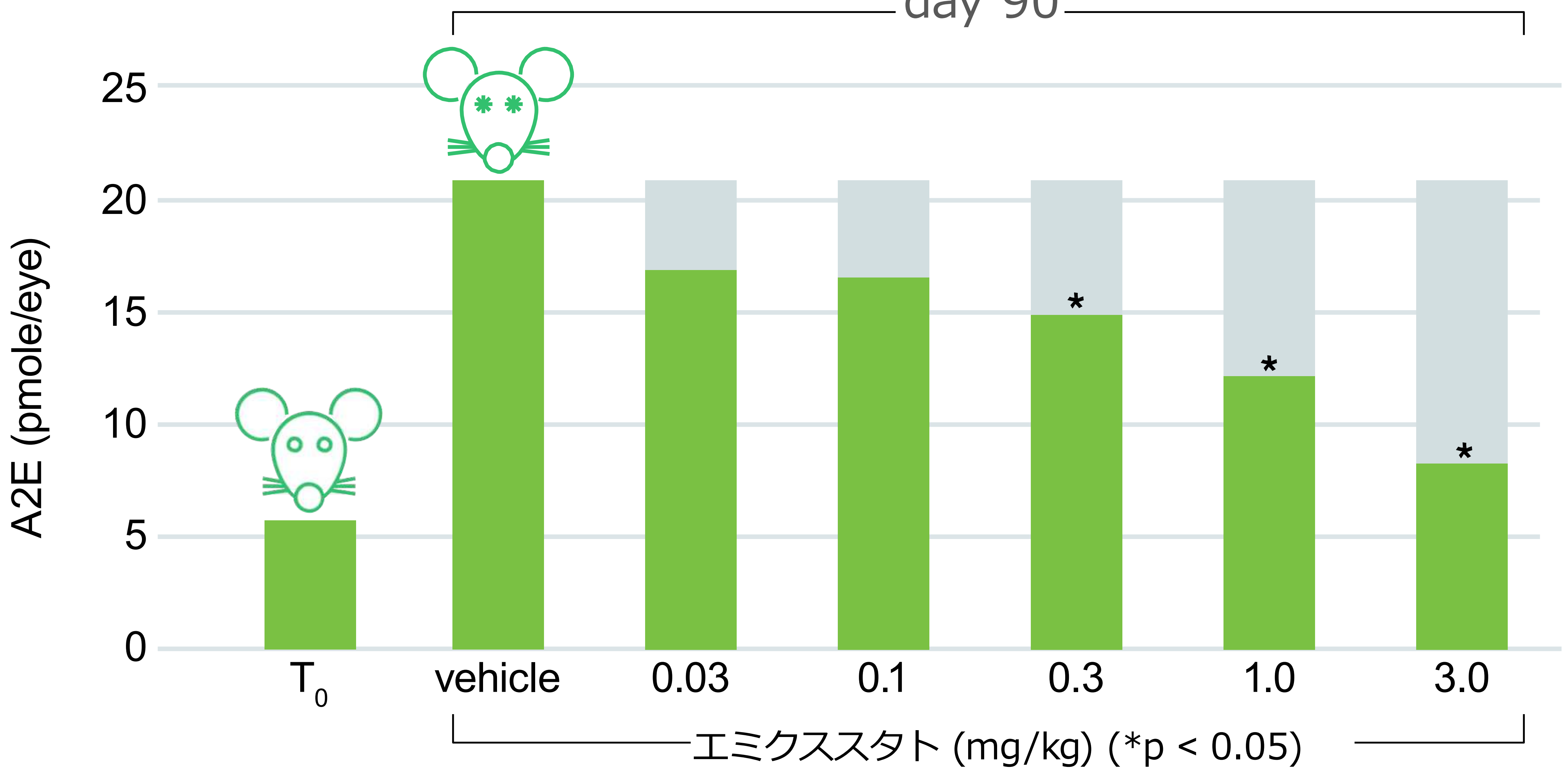


ABCA4-/-
(vehicle)



ABCA4-/-
(エミクススタト3mg/kg)

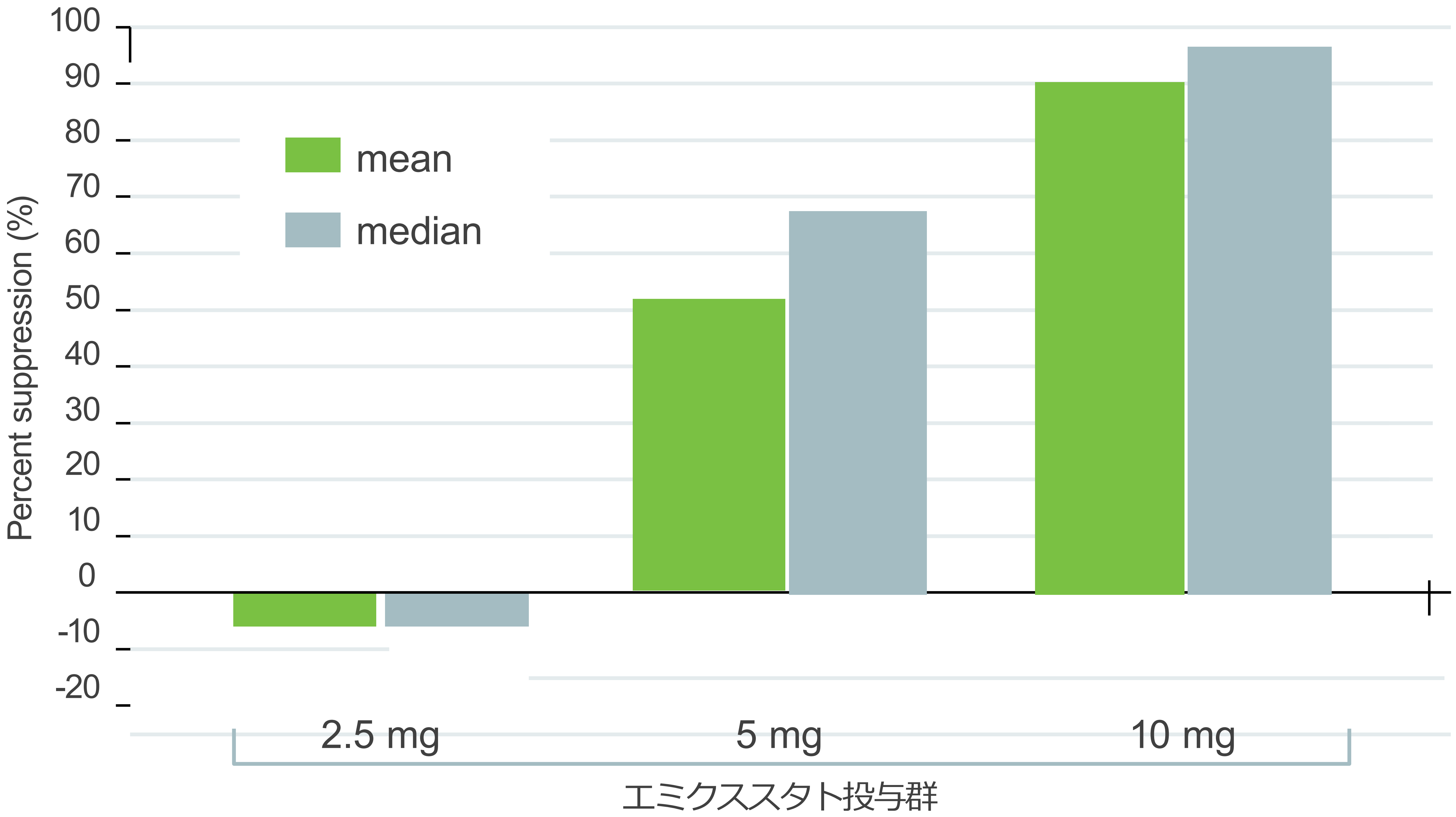
有害代謝産物（A2E）の蓄積を抑制



Modified from: Bavik C, Henry SH, Zhang Y, Mitts K, McGinn T, Budzynski E, et al. (2015) Visual Cycle Modulation as an Approach toward Preservation of Retinal Integrity. PLoS ONE 10(5): e0124940. doi:10.1371/journal.pone. 0124940.

スターガルト病：第２a相臨床試験完了

用量依存的に最大90%を超える本剤の効果が認められ、投与用量における安全性および忍容性が確認された



スターガルト病：第３相臨床試験開始

2018年11月７日（米国時間）、最初の被験者登録 (FPFV, First Patient First Visit) を完了

2020 年 1 月末時点の被験者登録数 108 名（目標被験者登録数 162 名）2020 年内の患者登録完了を目指す

→ 多施設共同（11カ国、30施設）、無作為化、プラセボ対照、二重盲検比較試験

162名の被験者をランダムに10mgのエミクススタト投与群とプラセボ群に2対1で割り当て、

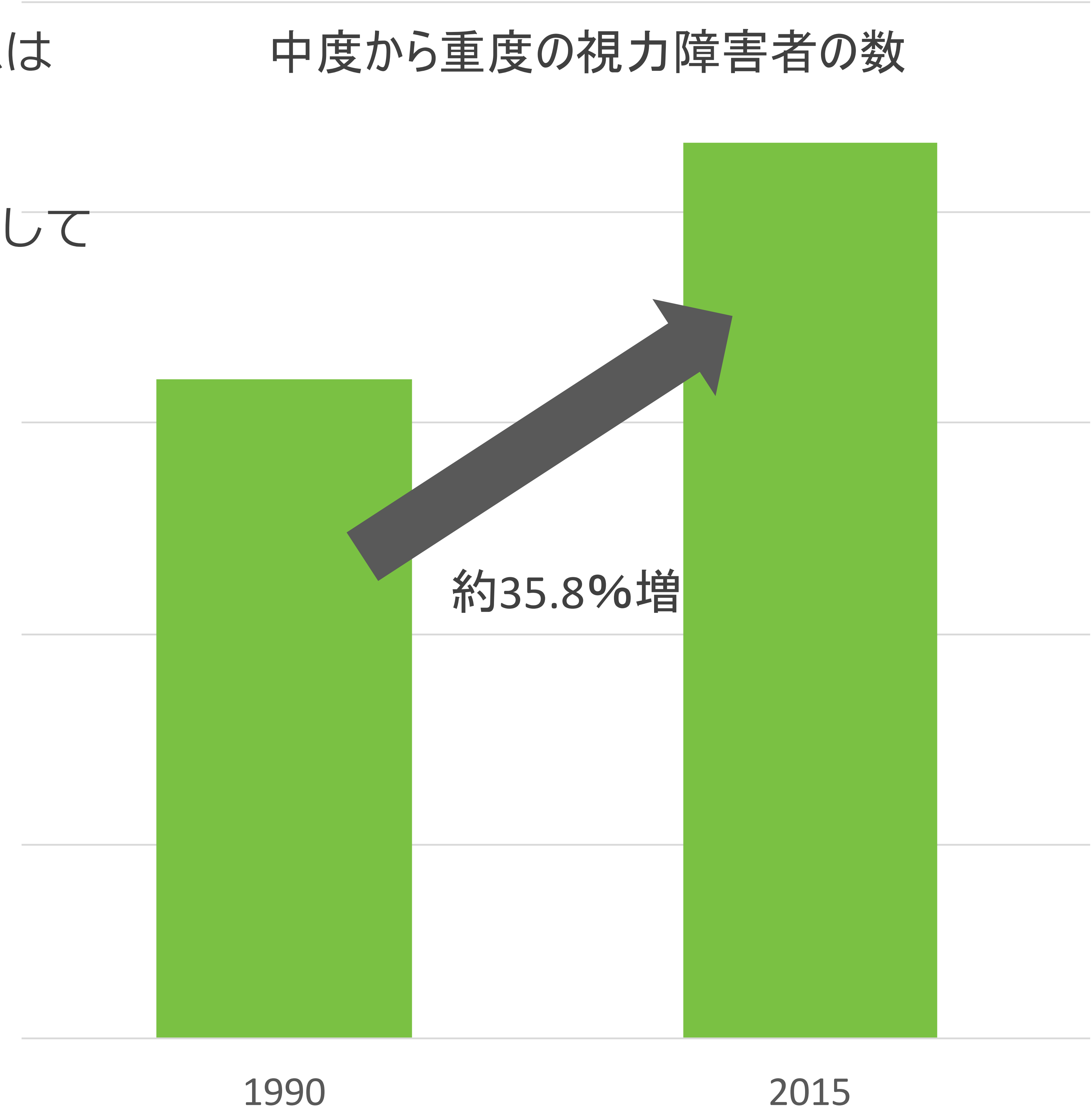
１日１回の経口投与にて24ヶ月間実施

在宅遠隔医療
モニタリングデバイス

世界の眼科医療の概況 -1

加齢黄斑変性(AMD)をはじめとする血管新生を伴う網膜疾患は主要な失明原因であり、高齢化とともに増加している

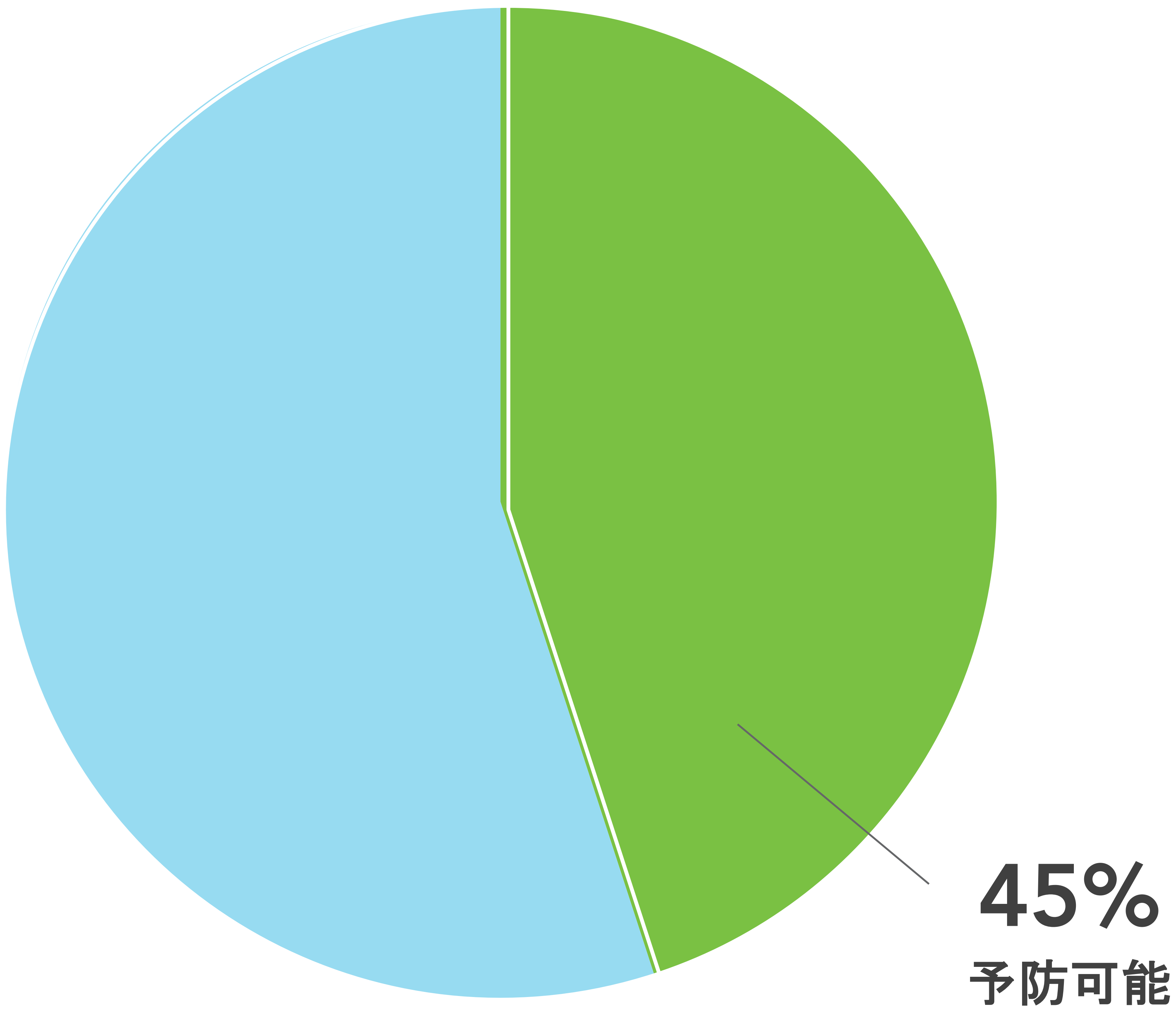
約２億5,200万人もの人々が中等度から重度の視力障害を有しており、うち約3,600万人が全盲と算定されている



出典: Bourne RRA et al. Magnitude, temporal trends, and projections of the global prevalence of blindness and distance and near vision impairment: a systematic review and meta-analysis. Lancet Glob Health. 2017 Sep;5(9):e888-e897

世界の眼科医療の概況 -2

視力障がいの原因は様々だが、
治療が行き届けば45%以上は視力障がいを
回避しうると考えられている

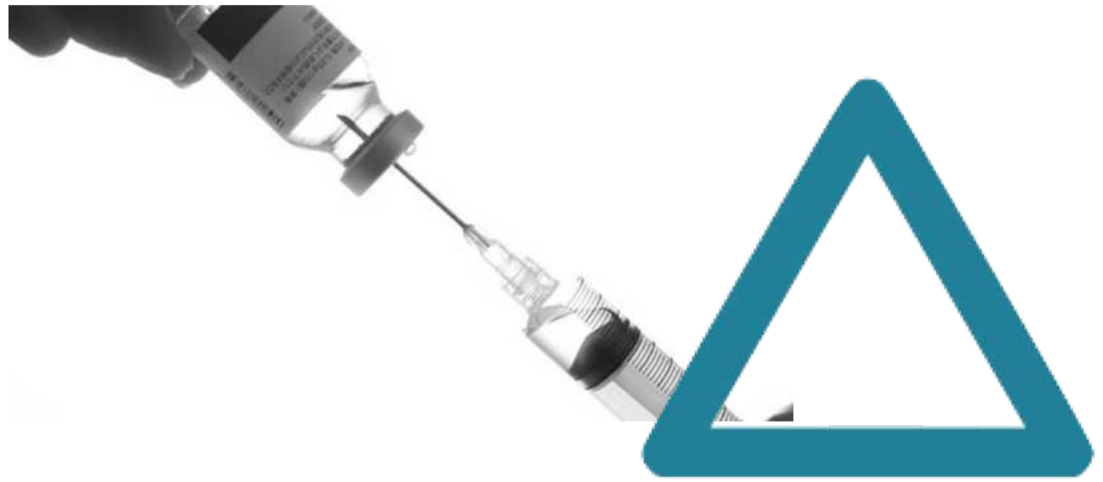


出典: World Health Organization
https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/blindness-and-visual-impairment

現在の医療課題

網膜疾患治療の第一選択肢は眼内注射：
■高い薬価(1本薬15万円)
■繰り返し投与が必要
■適切な投与タイミングが患者と異なる
視覚患者ごとに最適な治療をするには網膜の状態をタイムリーに観察することが必要

薬を適切なタイミングで投与することができない



網膜の観察には画像診断装置である光干渉断層計(OCT)が用いられる：

■高価な機器(1,000万円以上)
■的確に読影するには専門医の知識が必要

OCT検査を受けられる場所が限られる

安価でポータブルな測定機器が存在すれば、
タイムリーな診察が可能となり、患者ごとに最適な治療が達成出来る

ウェット型加齢黄斑変性治療薬投与頻度と視力改善

スケジュール通りに投与する臨床試験

12ヶ月

E
F P
T O Z
E D F S K T

10.7
眼内注射の
年間回数

9.1
ETDRS視力検査表を
用いた際の
読める文字数

医療現場の現実

12ヶ月

E
F P

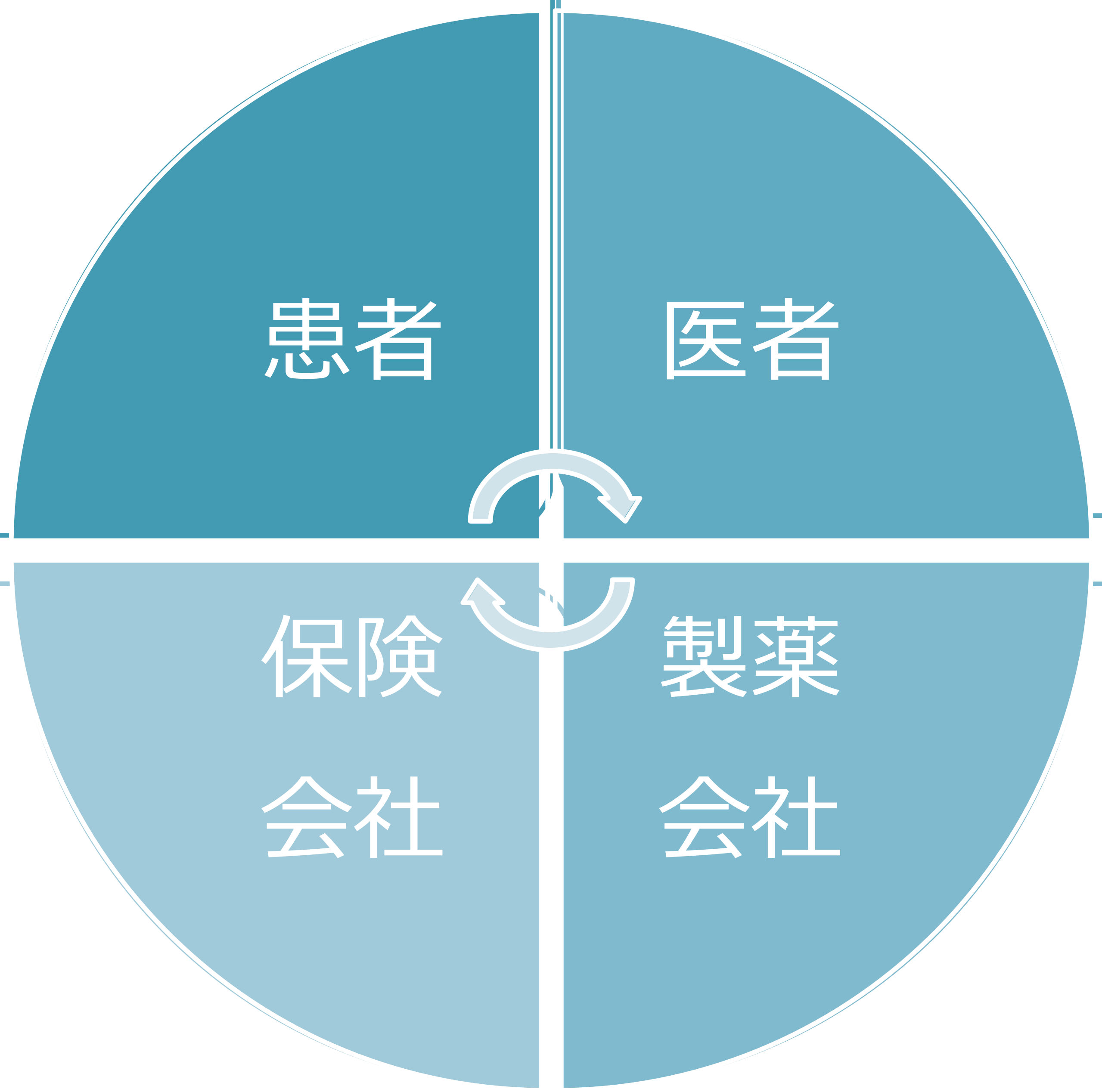
5.2
眼内注射の
年間回数

4.0
ETDRS視力検査表を
用いた際の
読める文字数

遠隔医療診断による四方良しの仕組み(米国)

- 診断医療費/交通費の削減ができる
- 常に自分の目の状態がわかる
- 最適な治療を受けることができる
- 地方、途上国などの充分な医者がいない地域でも受診ができる

- より多くの患者をモニタリングすることができる
- すぐにでも治療が必要な患者に対して時間を割くことができる
- 効率的な売り上げに繋がる

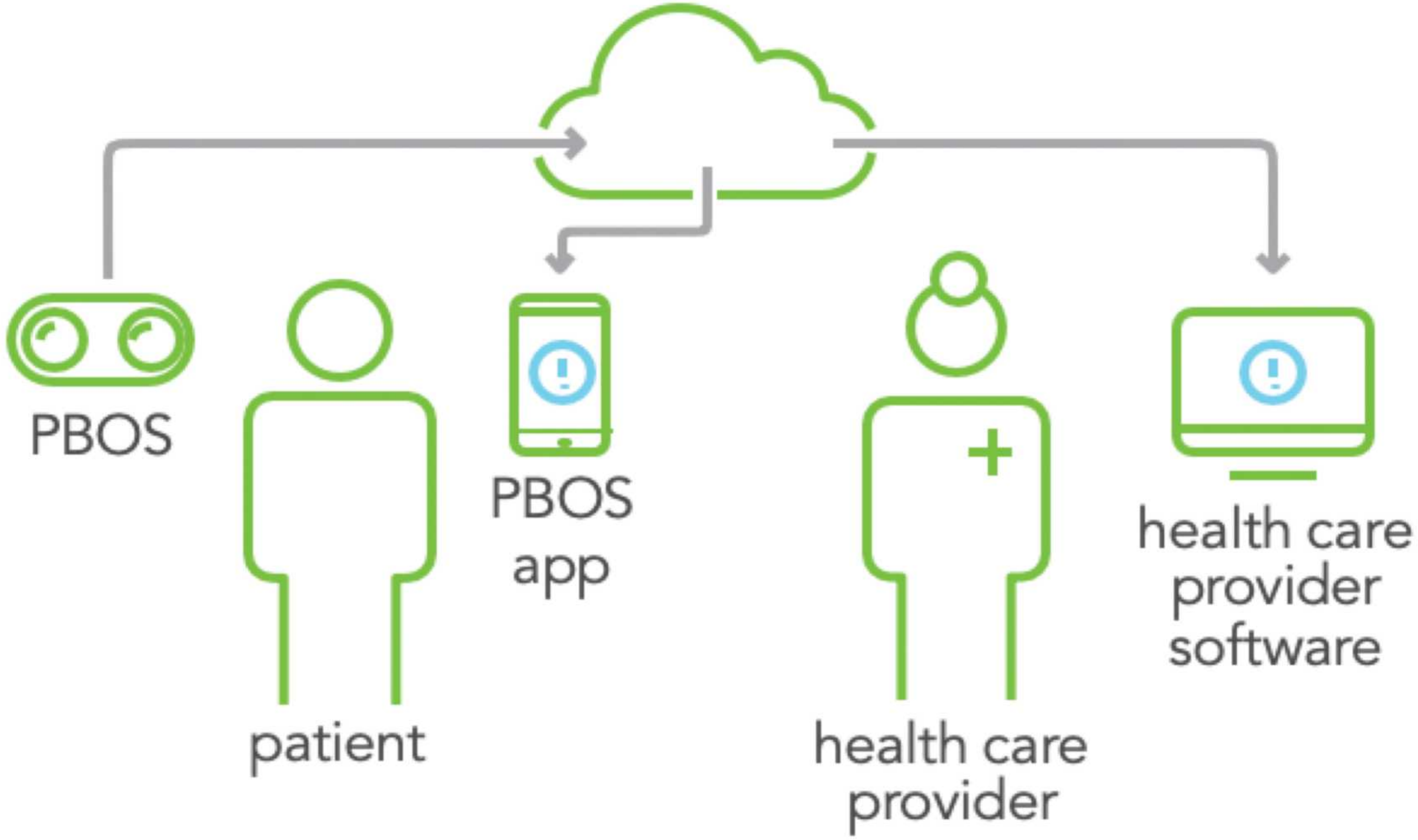


- 最高医療を必要な人に無駄なく提供することができる

- 投与するタイミングが明確になり、販売機会喪失の軽減に繋がる

超小型モバイルOCT

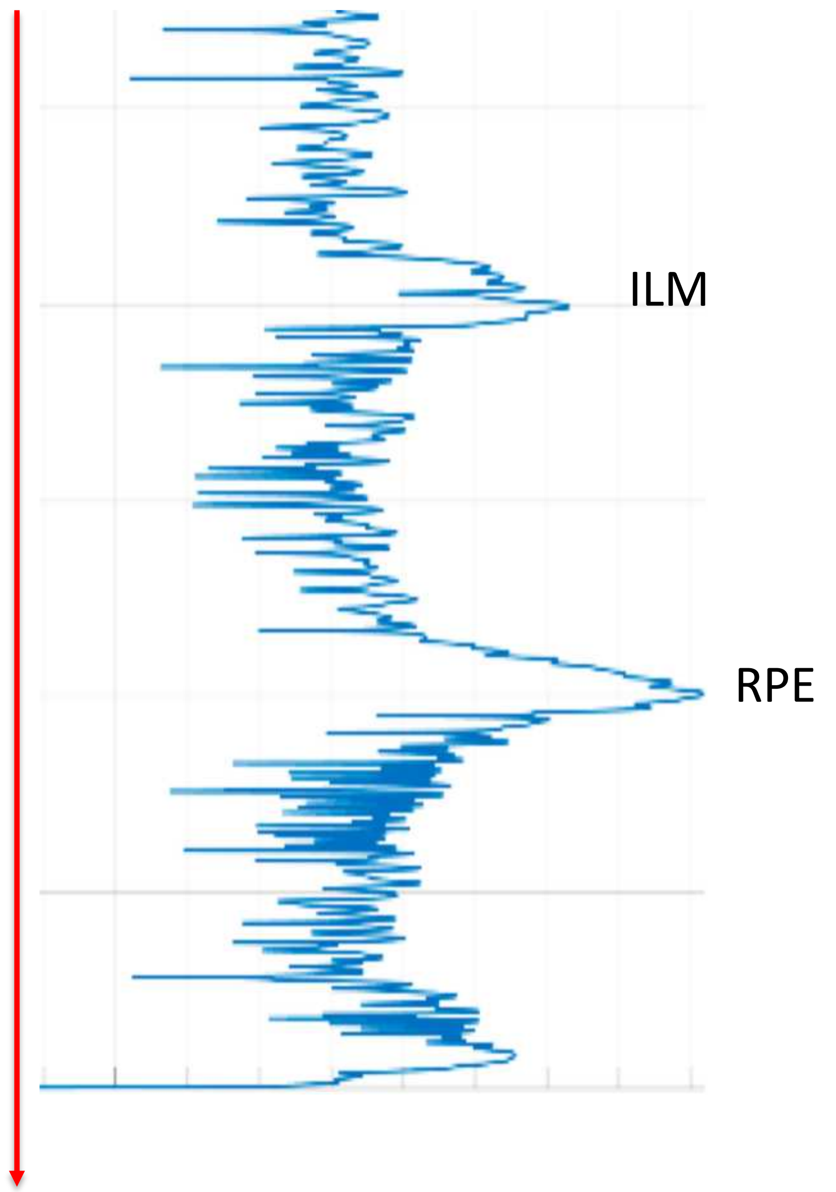
インターネットを活用した、
在宅での検査が可能な低コスト眼科医療モニタリングデバイス
目疾患の進行を検知し、通院しないと検査ができないなどの治療負担を軽減

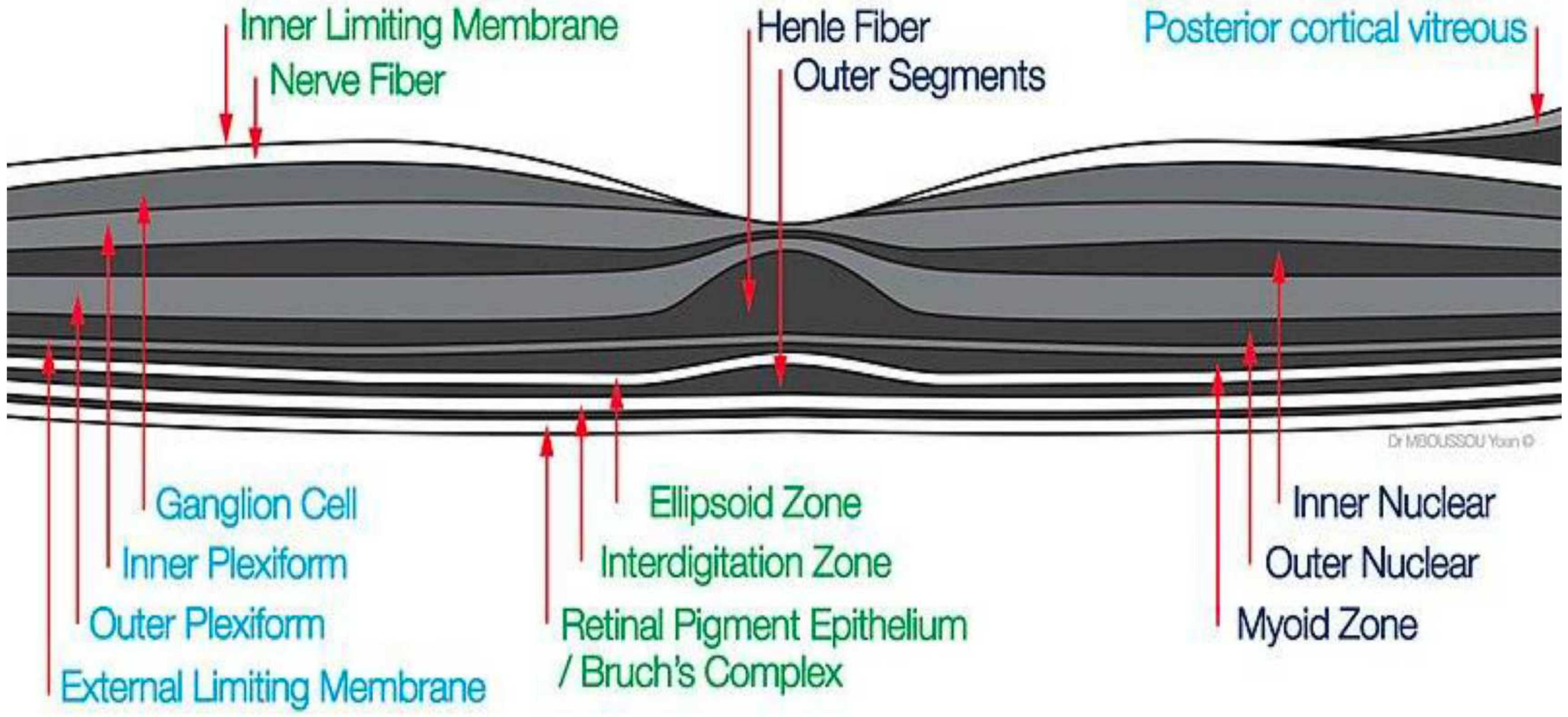


網膜の層構造とデバイスによる検出

実際に患者さんで測定された臨床データ

Single A-scan
Early Signal



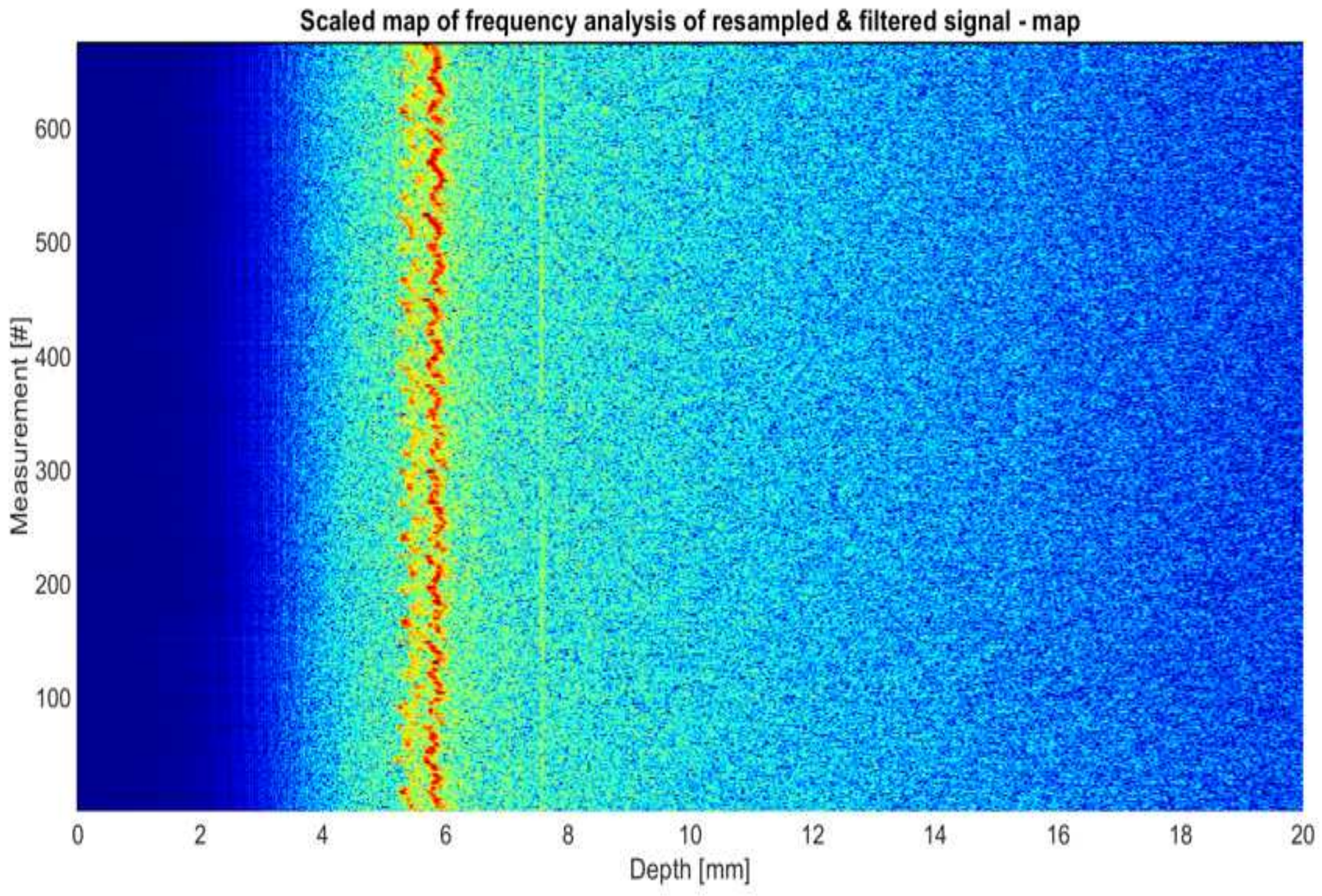


網膜の層構造とデバイスによる検出

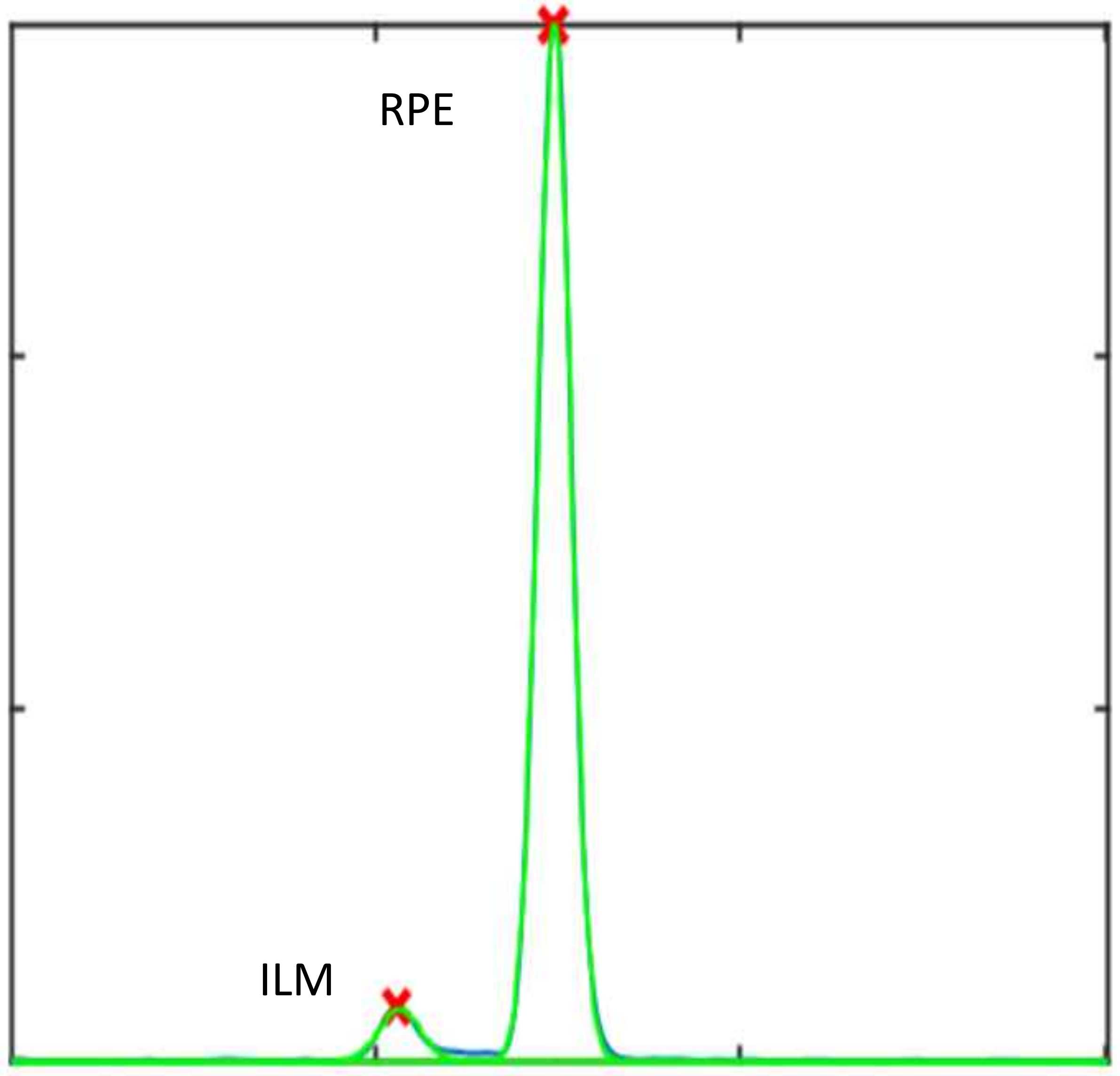
実際に患者さんで測定された臨床データ

Early Partially Processed Human Data

700 A-scans
Color Scale
Amplitude



Oversampled / Algorithmically Processed Wave Form



技術概要

患者のための設計

- **設定と操作方法が簡単なシステム**
- **高齢者へ配慮したソフトウェア**
  - ✓ 操作ボタンの大型化
  - ✓ 機能の簡素化
  - ✓ 起動の自動化
  - ✓ 検査プロセスを通じて患者をサポートする操作ガイド

技術概要

医師のための設計

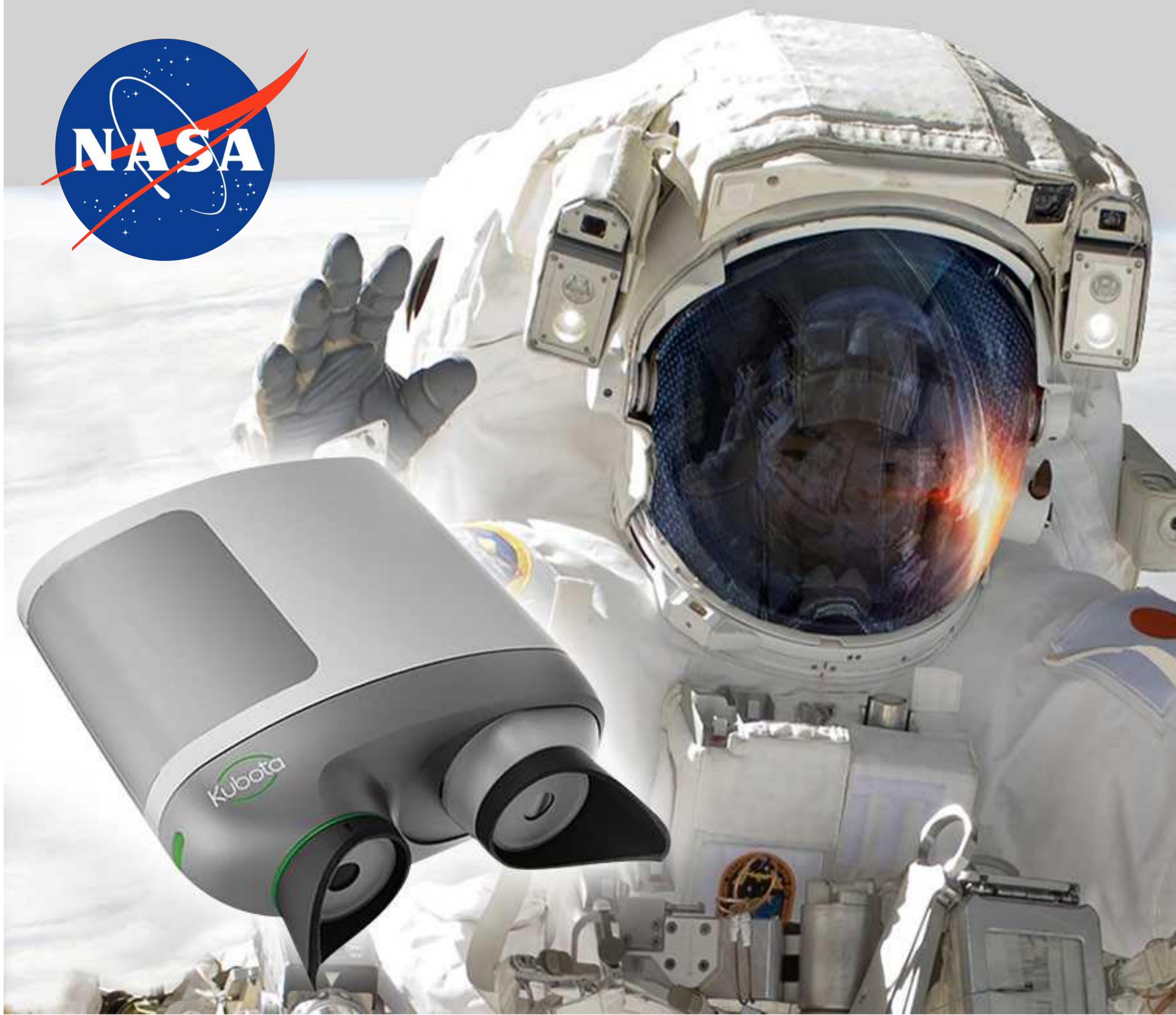
- **主観的なデータ**
  - 視力
    - ✓ 基本的に4文字改善することに臨床的意味がある
  - アムスラーグリッド
    - ✓ 信頼性が低い
  - 超視力検査
    - ✓ 臨床の現場では広く使われていない

技術概要

医師のための設計

- **客観的なデータ**
  - ✓ 網膜の厚さ
  - ✓ ±25ミクロン
    （臨床的に意味がある変化）
- **クラウドベースのマルチプラットフォームアクセス**
- **簡便な日常診療との融合**

NASA高解像度
デバイス



宇宙飛行士モニタリングデバイス

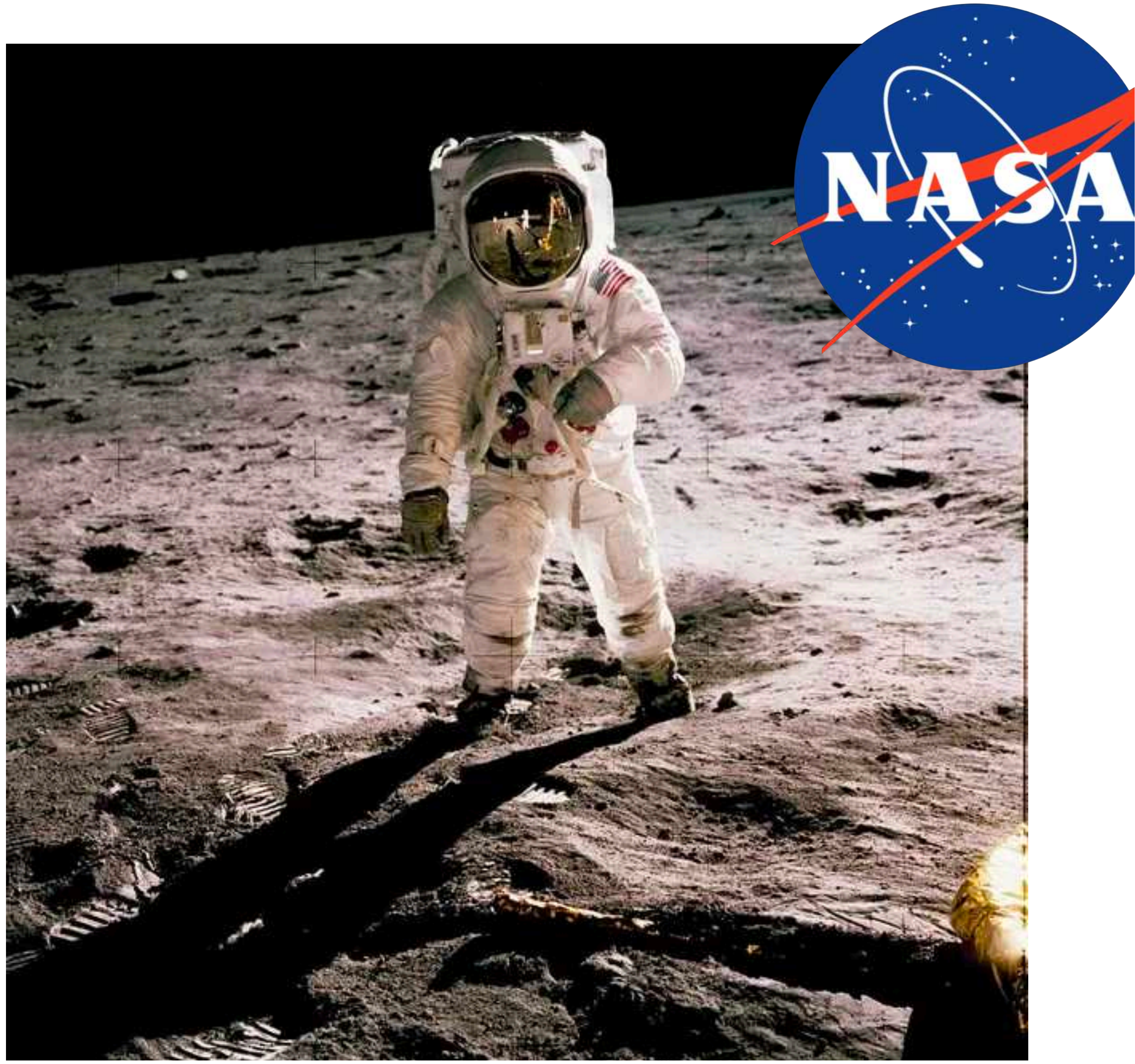
宇宙に長期滞在したヒトの69%が、
Spaceflight-Associated Neuro-ocular Syndrome(SANS)と診断されている(2020年1月末時点での情報)

宇宙飛行関連神経眼症候群（SANS）の兆候

- 視神経乳頭浮腫
- 遠視化
- 眼球後部平坦化
- 脈絡膜のひだ
- 綿花状白斑

宇宙飛行士モニタリングデバイス

当社の小型デバイステクノロジーを用いて、宇宙飛行中の宇宙飛行士の視神経の状態をモニタリングし、経過観察を可能に



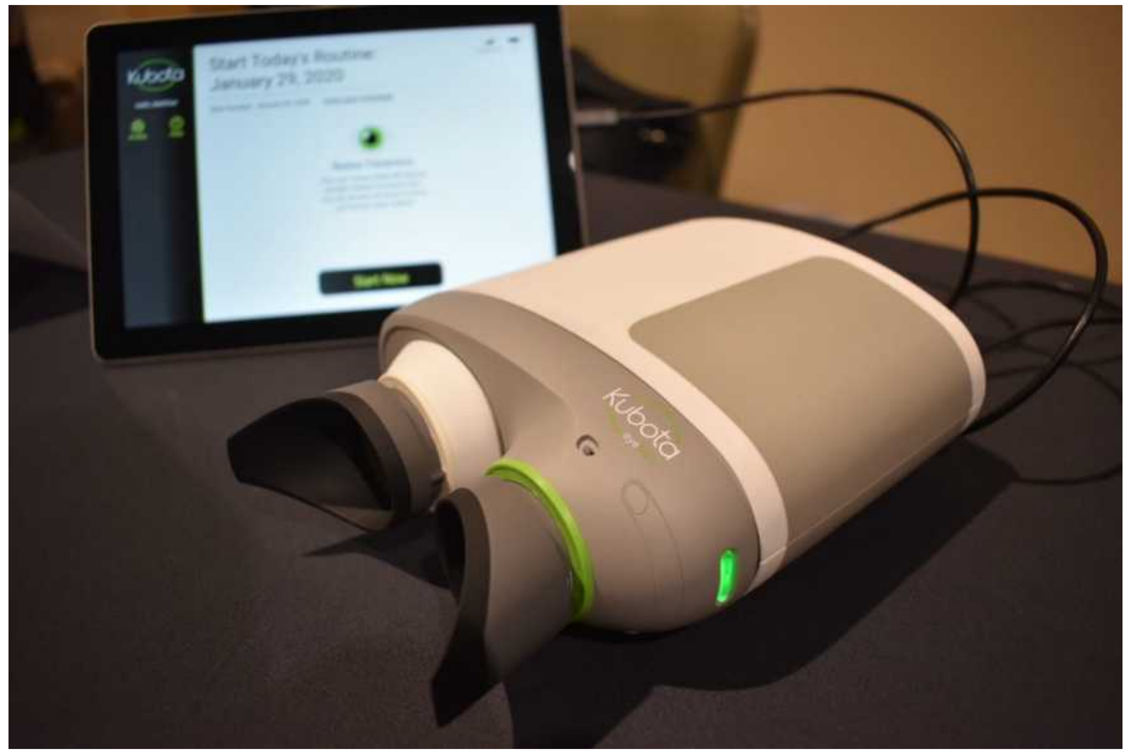
有人火星探査のために求められる眼科装置の条件

- 視神経乳頭の経過観察ができること
- シンプルな操作性であること
- 消費電力が少ないこと
- 耐放射線であること
- 超小型であること　など

将来的には、宇宙飛行士だけでなく、地上の緑内障患者や視神経疾患患者のモニタリングに活用
場所を問わず、多くの人を対象にこの小型デバイステクノロジーの活用が可能に

フェーズ１の進捗状況

2020 年１月 31 日(日本時間)
NASAおよびTRISHと超小型 SS-OCT プロジェクト(フェーズ１)の開発進捗状況について会議を実施



- 現在 NASA を含め、一般的に使われいるOCT は、立ち上げから計測して終了するまで２人の人員と 90 分の時間が割かれてる
- 当社のSS-OCTは自分１人で数分で計測できる
- SANS による乳頭浮腫が観察できる可能性が世界で初めて示された

William J. Tarver, MD MPH FAsMA, SANS Clinical Lead – CNS NASA Flight Surgeon コメント
御社が開発した OCT デバイスは、小型でありながら操作は簡単で、データ処理が早いことに大変驚きました。
この ようなデバイスであれば、NASA が懸念している、ミッション中に及ぼす宇宙飛行士の眼球への影響を研究するために、
まずは ISS で大いに役立つと信じています。
（注釈:有人火星探査等の長期宇宙飛行の前に、ISS にて本ディバイスの有効性を確認する必要があります。）

CAPT Tyson Brunstetter, OD, PhD, MBA, FAAO, FAsMA MSC, U.S. Navy, DoD Aerospace Medical Liaison, NASA SANS Clinical Lead - Eyes/Vision コメント
本会議を終えて非常に満足しています。御社の SS-OCT デバイスは、フェーズ１の仕様条件を満たしているだけでなく、
期待以上の完成度でした。商業化された製品のように見た目も洗練され、軽くて持ちやすい、まるで双眼鏡 を覗くような使い心地でした。
こんなに早い段階で、ここまでのデバイスを作り上げる御社が、フェーズ２でどん な仕上がりを見せてくれるのか大変楽しみです。

網膜色素変性症
遺伝子治療薬

網膜色素変性症

■初期には夜盲症、それに続く視力低下、視野狭窄などが特徴的な症状

■世界で4,000人に１人がかかる稀少疾病であり、
約150万人が罹患し、失明をきたす恐れがある遺伝性網膜疾患

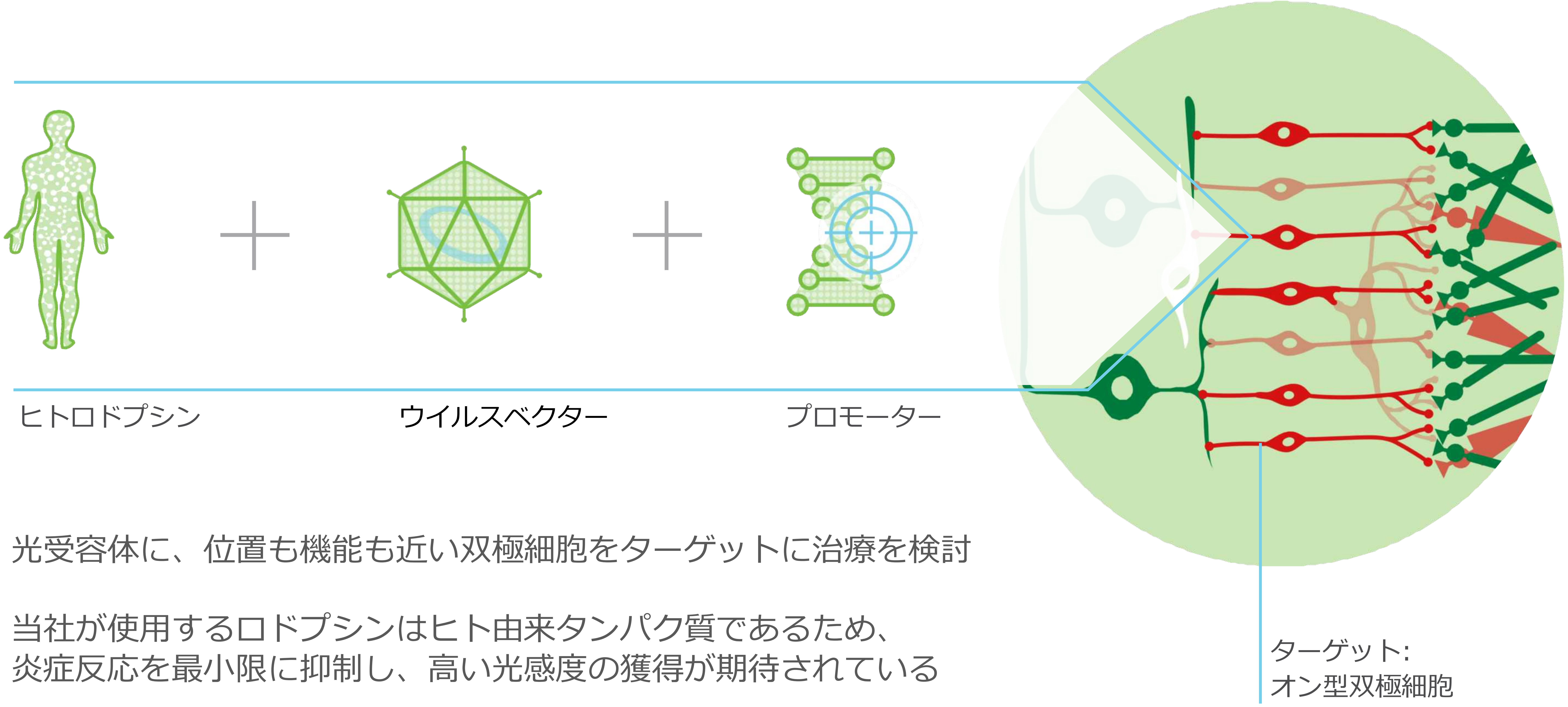
■日本では約5,000人に一人が発症

■幼少期に発症し、40歳までに失明するケースがある

■網膜色素変性症は遺伝性網膜疾患で、
起因する遺伝子変異は３千種類以上

■現在、網膜色素変性症の有効な治療法は無く、
遺伝子変異毎に遺伝子治療などの研究開発が進められている

オプトジェネティクス技術でヒトロドプシンを導入



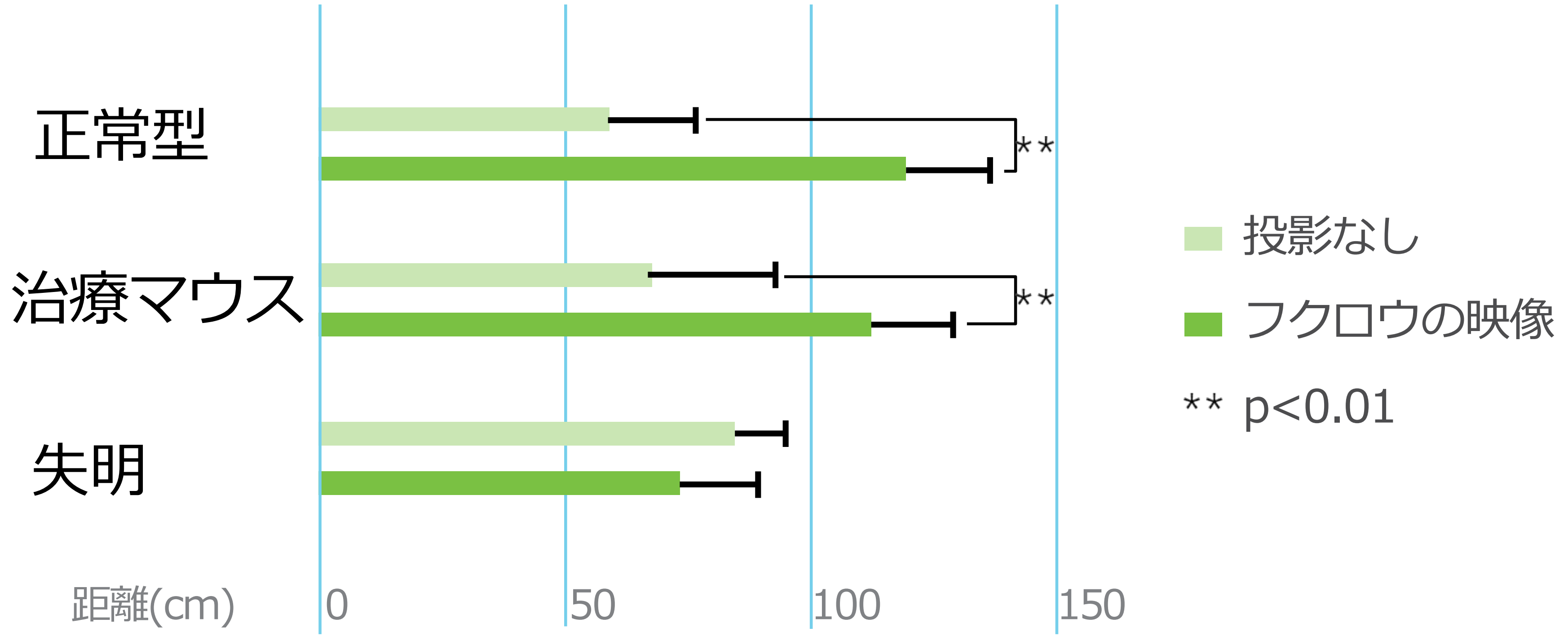
光受容体に、位置も機能も近い双極細胞をターゲットに治療を検討

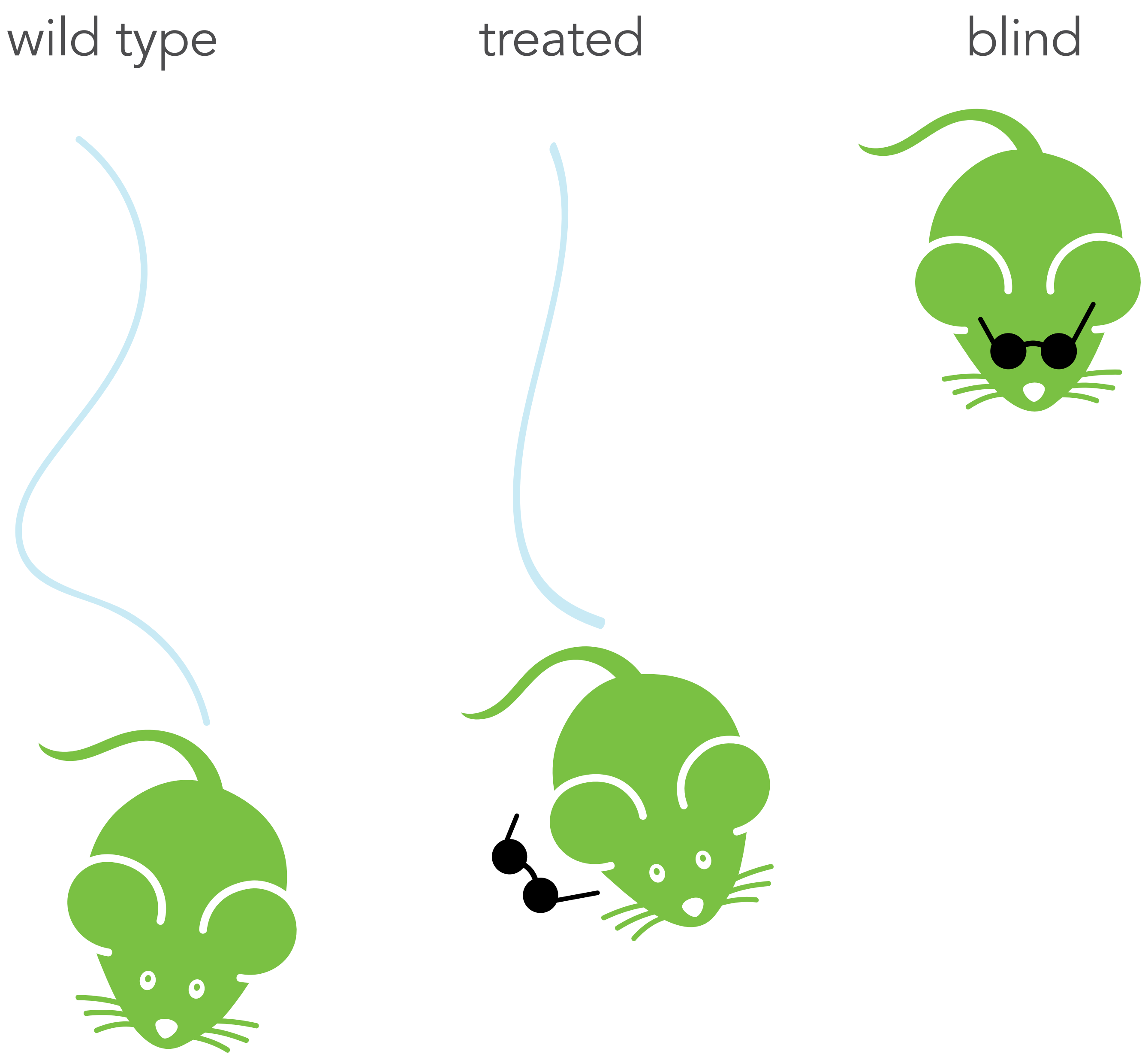
当社が使用するロドプシンはヒト由来タンパク質であるため、
炎症反応を最小限に抑制し、高い光感度の獲得が期待されている

失明した網膜色素変性症マウスが視覚を回復

■ヒトロドプシンは失明した網膜色素変性症マウスの
視力再生に有効であることが示されている

■オプトジェネティクスで治療したマウスが、
襲いかかろうとするフクロウの映像に対して行動的反応を示した





出典: Cehajic-Kapetanovic et al. 2015, Current Biology 25, 2111-2122

➢ 2019年12月期 決算概要

連結損益計算書の概要 (IFRS)

単位：百万円	2018年 12月期	2019年 12月期	増減額	増減の主な要因
事業収益	**ー**	**ー**	**ー**	
事業費用	**3,274**	**3,322**	**+ 48**	
研究開発費	2,479	2,770	+ 291	• エミクススタトのスターガルト病を対象とした第３相臨床試験の本格化 • 遠隔眼科医療モニタリングデバイス PBOSの開発費増加 他
一般管理費	794	552	△ 242	• 人員減等による人件費の減少
営業損失（△）	**△ 3,274**	**△ 3,322**	**+ 48**	
当期損失（△）	**△ 3,046**	**△ 3,099**	**+ 53**	

連結財政状態計算書の概要 (IFRS)

単位：百万円	2018年12月末	2019年12月末	増減額	増減の理由
流動資産	**11,177**	**8,177**	**△ 3,000**	
現金及び現金同等物、その他の金融資産	10,939	7,970	△ 2,969	（※）
非流動資産	**113**	**563**	**+ 450**	
その他の金融資産	-	488	+ 488	（※）
資産合計	**11,290**	**8,741**	**△ 2,549**	
流動負債	**662**	**539**	**△ 123**	未払債務や未払報酬の減少
非流動負債	**85**	**158**	**+ 73**	
資本	**10,543**	**8,044**	**△ 2,499**	• 当期損失計上による減少 • 新株予約権の行使による増加
負債及び資本合計	**11,290**	**8,741**	**△ 2,549**	
（※）手元資金 現金及び現金同等物、その他の金融資産(流動・非流動)の合計	10,939	8,458	△ 2,481	• 営業CF：△3,428百万円

Kubota

2020年度の見通しと資金調達

単位：百万円	事業収益	営業利益	税引前利益	当期利益
2020年度（予想）	+40	△2,500	△2,400	△2,400
2019年度（実績）	–	△3,322	△3,138	△3,099

※　想定為替レート：１米ドル＝110円

- 事業収益
  - NASAと共同開発中の宇宙飛行士モニタリング機器（フェーズ１）の開発委託金の売上計上を見込む

- 営業利益（損失）
  - 研究開発費 – 研究開発戦略の見直しにより、現金支出を抑制
    - エミクススタト塩酸塩：スターガルト病を対象とした第３相臨床試験を継続。2020年度中の被験者登録完了を見込む（162名）
    - PBOS：パートナー企業との業務提携を含めた事業戦略見直しのため、510(k)申請を一旦保留
    - 研究プロジェクト：パイプラインの強化に向けて継続して実施
  - 一般管理費 – 経費削減は継続するも、社内体制強化に向け若干の増加を見込む

本プレゼンテーション資料に含まれる将来の財務情報および予測にかかる記述は、 2020年2月13日付「2019年12月期 決算短信」に基づいて記載されています。これらの将来の財務情報および予測は当初の開示の時点の記述であり、既に開示されている将来の財務情報および予測を更新するものでも正確性を保証するものでもありません。