



アキュセラ (Acucela Inc.) 第2四半期 説明会資料

2015年8月26日東京

アキュセラは、世界中で数百万人の人々に影響を及ぼしている、視力を脅かす眼疾患を治療または進行を遅らせる可能性のある革新的な治療薬の探索および開発に取り組んでいる、臨床開発段階のバイオテクノロジー企業です。



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。

企業概要



当社の強み



最先端のサイエンスを基に、眼科領域に特化したバイオテクノロジー企業

人材と戦略

- 業界経験豊富な経営陣
- 研究、開発、事業運営において幅広いスキルを持つ人材
- 眼科領域における革新的な事業展開を可能とする戦略的
事業計画

技術

- ユニークな作用機序を持つ視覚サイクルモジュレーション
技術
- 地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性の治験において
先駆的な存在：現在治療薬の無い疾患
- 100件の特許を取得、175件の特許を出願中
(2015年6月30日現在)

パートナーシップ

- 大塚製薬との長期的視野に基づく提携関係
- 安定した資金を享受することが可能な提携関係
- リード化合物「エミクススタ塩酸塩」に関しては、欧州、南
米、アフリカのほぼ全域において単独商業化権を保有
(北米においては大塚製薬と共同販売)

財務内容

- 2014年2月に東証に上場。総額163百万米ドルを調達
- 2015年第2四半期で、175百万米ドルの現金および短期・
長期投資有価証券を保有。安定した財務内容

2015年第2四半期ハイライト



直近のハイライト

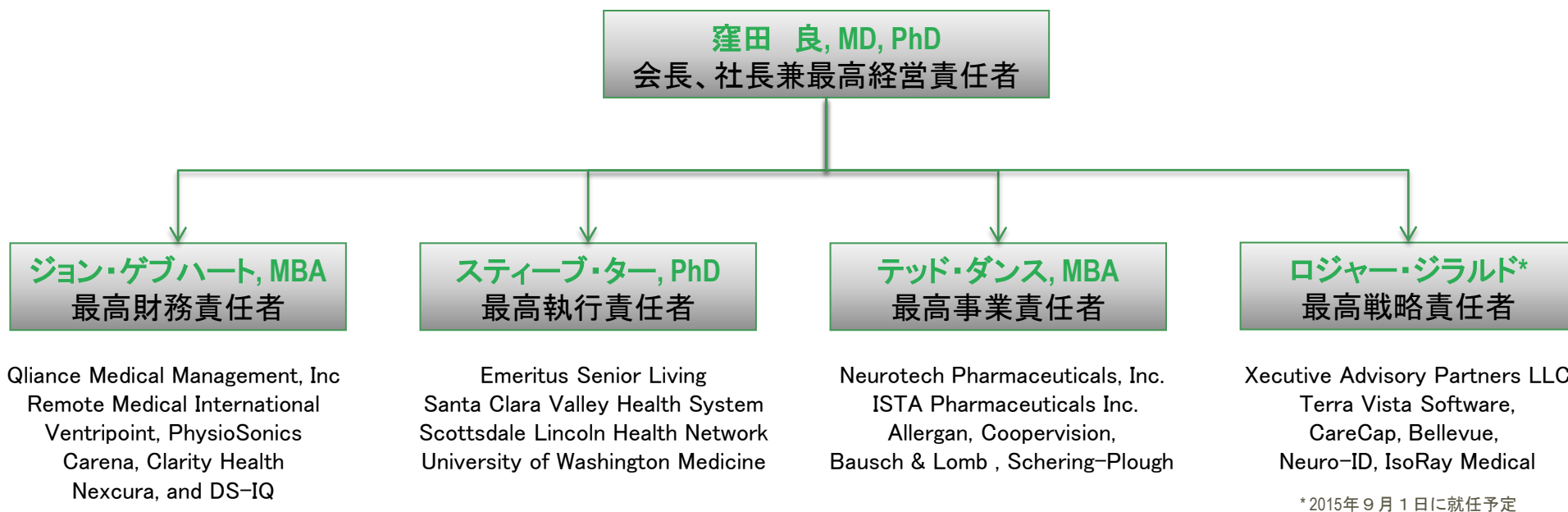


日付	ハイライト
4月1日	「エミクススタト塩酸塩」の用途特許に係わる新規米国特許取得のお知らせ
5月2日	臨時株主総会の決議に関するお知らせ 取締役の異動、最高経営責任者の異動および新経営体制に関するお知らせ
5月14日	「エミクススタト塩酸塩」の前臨床データに関する論文が「PLOS ONE(プロス・ワン)」誌に掲載
6月4日	「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2a相試験の結果に関する論文が「RETINA: The Journal of Retinal and Vitreous Diseases」誌に掲載
6月29日	年次株主総会の決議に関するお知らせ(取締役の選任、独立登録会計事務所の任命)
7月2日	ロジャー・ジラルド 最高戦略責任者の任命に関するお知らせ
8月5日	ルーカス・シャイブラー トランスレーショナル医療担当上級副社長の任命に関するお知らせ
8月25日	ジョージ・ラセズキー 法務担当上級副社長の任命に関するお知らせ

新経営体制



今後の会社の長期的成長に向けて経験豊富な経営陣を投入し、
新経営体制が発足



役員紹介



役員	経歴
窪田 良 MD、PhD	アキュセラ・インク創業者 会長、社長兼最高経営責任者 (CEO)
浅子 信太郎	DeNA West 最高経営責任者 前職: <i>MediciNova, Inc.</i> 、最高財務責任者
三田 四郎 PhD	株式会社エムズサイエンス 社長兼最高経営責任者 前職: 参天製薬株式会社、薬剤開発担当執行取締役
中村 栄作	一般社団法人こいのぼり 理事 前職: バイオサイトキャピタル株式会社、取締役兼部長、 <i>Berevno Corporation</i> 、最高経営責任者兼社長 <i>CanBas Corporation</i> 、社外取締役、株式会社アクティバスファーマ、社外取締役
ロバート・タケウチ	RTコンサルティング・インク 社長 前職: <i>Softbank Investment America Corporation</i> 、社長、 <i>Softbank America</i> 、財務部長および秘書役、 <i>Credit Suisse First Boston</i> 社、国際エクイティ・セールスのディレクター、SBIインベストメント株式会社および <i>Quark Pharmaceuticals, Inc.</i> 、取締役

臨床第2a相試験結果

「エミクススタト塩酸塩」投与後90日の萎縮病変分析



Table 4. Lesion Size Change From Baseline at Day 90

	Placebo (N = 18)	Mean (SD) Change From Baseline for Study Eye		
		Emixustat*		
		2 mg qAM (N = 12)	5 mg qAM (N = 12)	5 mg qPM (N = 12)
CP				
Total area, mm ²	0.4 (0.7)	0.2 (0.5)	0.3 (0.5)	0.1 (0.5)
n	9	11	10	8
FAF				
Total area, mm ²	0.2 (0.4)	-0.1 (1.4)	0.0 (0.2)	0.0 (1.0)
n	8	11	4	8
FA				
Total area, mm ²	0.4 (0.5)	0.2 (0.6)	0.5 (0.5)	0.2 (0.6)
n	12	12	10	9

*Lesion data were not analyzed for the 7 mg qAM and 10 mg qAM cohorts.
CP, color photography; FAF, fundus autofluorescence photography.

出典: Dugel P, Novack R, Csaky K, Richmond P, Birch D, Kubota R. Phase II, randomized, placebo-controlled, 90-day study of emixustat hydrochloride in geographic atrophy associated with dry age-related macular degeneration. *Retina*. June 2015; 35(6): 1173-1183

企業戦略



当社が掲げる4つの企業戦略



企業価値

革新的なサイエンスを応用し、
眼疾患の治療に貢献

M&A

グローバル化、
企業価値の向上

業務提携 &
インライセンシング

社内研究開発強化

研究開発

「エミクススタト塩酸塩」
「OPA-6566」

既存パイプライン

企業理念: 視力を脅かす眼疾患への治療の提供

時間

2015年度上半期の実績



既存パイプラインの開発を継続しつつ、パイプライン拡充のために事業開発活動を活発化

既存パイプライン

地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性に関わる「エミクススタト塩酸塩」

- 既に2015年8月時点で、臨床第2b/3相試験被験者の50% が投与期間を終了
- 現時点で、安全性に関わる問題は報告されていない
- ヨーロッパ市場への拡大を視野に、ヨーロッパ規制当局との協議を開始

糖尿病性網膜症／糖尿病性黄斑浮腫に関わる「エミクススタト塩酸塩」

- 糖尿病性網膜症または糖尿病性黄斑浮腫など他の適応症を対象とした「エミクススタト塩酸塩」の開発可能性について評価を実施

研究開発

- トランスレーショナル医療担当上級副社長の採用
- 視覚サイクルモジュレーション技術の新たな適応症への対応に関わる研究開発
- 社内研究開発投資の増加

業務提携 & インライセンシング

- テッド・ダンス(最高事業責任者)のチームが、眼科領域に特化したターゲット企業および化合物の査定を実施

M&A

- 眼科領域に特化した、幅広い業態を含む事業戦略を立案

大塚製薬との提携概要



大塚製薬とは、安定且つ長期的な関係を維持

治療薬候補	適用疾患	商業化権	財務に係わる概要
エミクススタ塩酸塩 (開発: 当社)	<ul style="list-style-type: none"> ドライ型加齢黄斑変性 その他眼科適応症 	共同(50/50) — 北米 当社単独 — 欧州、南米、 アフリカほぼ全域 大塚製薬単独 — アジア 太平洋、中東および北 アフリカの一部	<ul style="list-style-type: none"> 大塚製薬は当社に対して、5百万米ドルの前払い金を提供 大塚製薬は当社に対して、最大258百万米ドルのマイルストーンを提供 2011年以降、大塚製薬は開発費用に関わる当社負担分を資金提供。かかる費用は、「エミクススタ塩酸塩」の商業化により得られる利益(もしあれば)または売上もしくはライセンス手数料(もしあれば)により返済予定
OPA-6566 (開発: 大塚製薬)	<ul style="list-style-type: none"> 緑内障 その他眼科適応症 	米国	<ul style="list-style-type: none"> 今後の開発方針に関しては、これらの追加試験の結果を踏まえた上で評価検討する予定

2015年第2四半期決算概要



損益計算書の概要



6月30日に終了した6ヶ月間	2014年度	2015年度	2014年度	2015年度	差異の理由
単位:千米ドル、千円	米ドル	米ドル	日本円	日本円	
提携からの収益	19,632	14,396	2,403,938	1,762,790	「エミクススタト塩酸塩」に関連する請求可能な活動の減少
費用					
研究開発費	14,471	11,509	1,771,974	1,409,277	
エミクススタト塩酸塩	13,943	10,753	1,707,320	1,316,705	「エミクススタト塩酸塩」に関連する請求可能な活動の減少
インライセンス ⁽¹⁾	22	-	2,694	-	
社内研究 ⁽²⁾	506	756	61,960	92,572	当社の視覚サイクルモジュレーターおよび新規化合物に関わる研究開発費の増加
一般管理費	4,842	17,050	592,903	2,087,773	
一般管理費	4,842	8,004	592,903	980,090	コンプライアンス、IR活動および経営陣の増加
臨時株主総会および 経営陣変更に関連する費用	-	9,046	-	1,107,683	主に、退職関連コスト(退職金および株式報酬費用)の6.4百万米ドルおよび弁護士・コンサルティング費用の2.2百万米ドル。その他、既存従業員に対する残留手当および新任役員採用費用
営業利益(損益)	319	(14,163)	39,061	(1,734,260)	
四半期純利益(損失)	125	(13,678)	15,306	(1,674,872)	

(1) インライセンス: レバミピド契約、緑内障契約に基づくプログラム関連。尚、レバミピド契約は、2013年に解除されております

(2) 社内研究: 当社の創薬研究活動に関する研究開発費

(注) 2015年6月30日の為替レートを使用 (1米ドル = 122.45円)

キャッシュフローの概要



6月30日に終了した6ヶ月間	2014年度	2015年度	2014年度	2015年度	差異の理由
単位:千米ドル、千円	米ドル	米ドル	日本円	日本円	
営業活動によるキャッシュフロー	(1,827)	(10,589)	(223,699)	(1,296,622)	現金流出は主に、当四半期純損失が13.7百万米ドルおよび提携からの繰延収益が4.4百万米ドル減少したことによる
投資活動によるキャッシュフロー	(126,849)	717	(15,532,674)	87,785	主に市場性有価証券の購入(純額)による
財務活動によるキャッシュフロー	147,661	(1,099)	18,081,088	(134,573)	従業員の源泉徴収税のための制限付株式ユニットの買戻しによる
現金および現金同等物ならび短期/長期投資(期末残高)	177,282	174,508	21,708,181	21,368,505	

- 当社は、営業からの現金ならびに現金、現金同等物および投資のバランスは、当社の継続的営業活動、運転資本、資本支出ならびにその他の資本需要を少なくとも今後12か月にわたって賄うのに十分であると考えます。
- 当社の将来的な資本需要は、収益の伸び率、研究開発活動の拡大、大塚製薬との提携契約に基づく製品候補を共同販売する選択のタイミングおよび範囲ならびに大塚製薬との提携契約に基づくマイルストーンの達成のタイミングを含む多くの要素に依存します。

(注)2015年6月30日の為替レートを使用(1米ドル = 122.45円)

貸借対照表の概要



	12/31/2014	6/30/2015	12/31/2014	6/30/2015	差異の理由
単位: 千米ドル、千円	米ドル	米ドル	日本円	日本円	
流動資産	111,714	101,392	13,679,378	12,415,439	
現金および現金同等物、短期投資	103,786	92,690	12,708,595	11,349,879	
固定資産	85,252	83,146	10,439,105	10,181,227	
長期投資	84,033	81,818	10,289,840	10,018,614	
資産合計	196,966	184,538	24,118,483	22,596,666	
流動負債	12,556	8,183	1,537,478	1,001,977	
長期負債	47	1,175	5,755	143,879	当社新本社施設のリースに関連した繰延賃借料
株主資本	184,363	175,180	22,575,250	21,450,810	

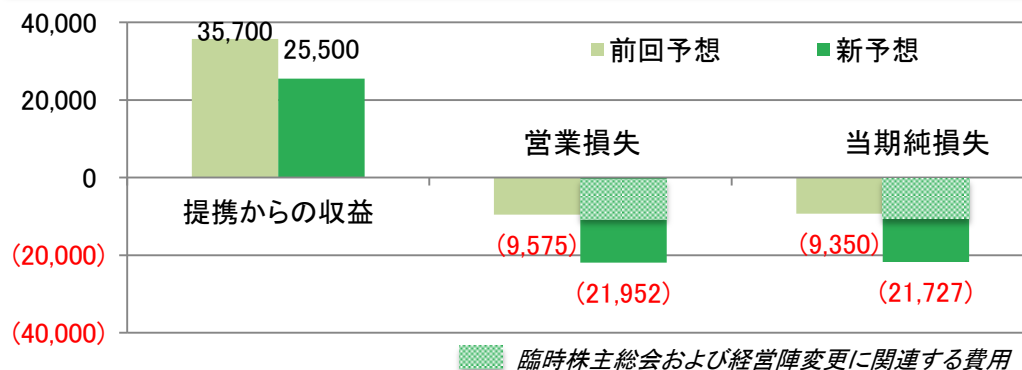
(注) 2015年6月30日の為替レートを使用(1米ドル = 122.45円)

2015年12月期の業績予想の修正

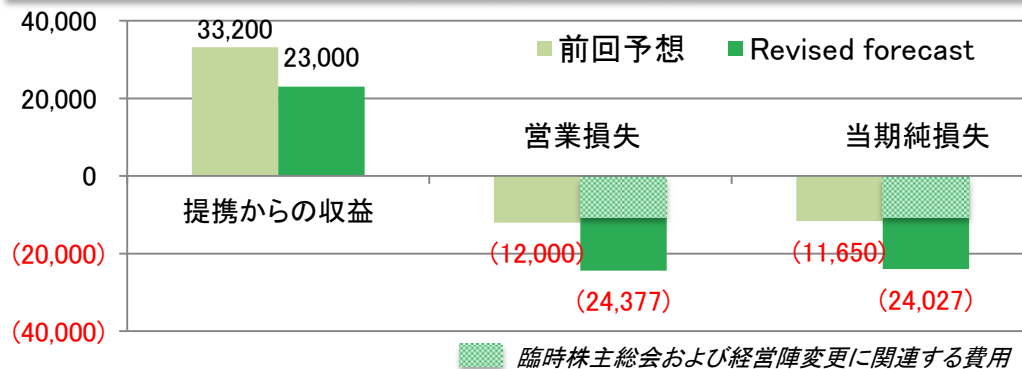


(単位:千米ドル)

2015年12月期:ケース(最高)



2015年12月期:ケース(最低)



(注)2015年6月30日の為替レートを使用(1米ドル = 122.45円)

修正理由

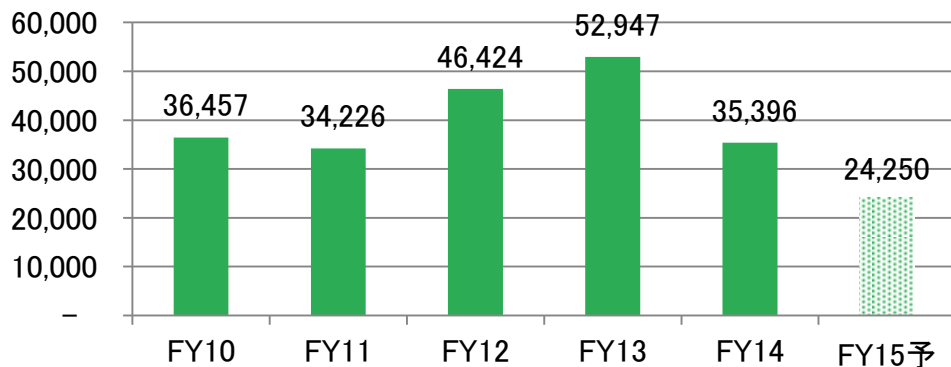
- **提携からの収益**
 - 提携パートナーが当社に払戻す共同研究活動の過程において発生する費用予想値を下回ったことによる
- **営業損失**
 - 主な要因は、2015年5月1日の臨時株主総会および関連する経営陣の異動に伴う費用の増加
 - 弁護士費用およびコンサルティング費用、退職金支払いならびに新規採用従業員および既存の従業員に対する残留手当を含む
 - その他、提携パートナーからの払戻しのない社内研究に関わる人員の増加に伴う費用の増加
- **当期純損失**
 - 営業損失と同様の理由

財務概要

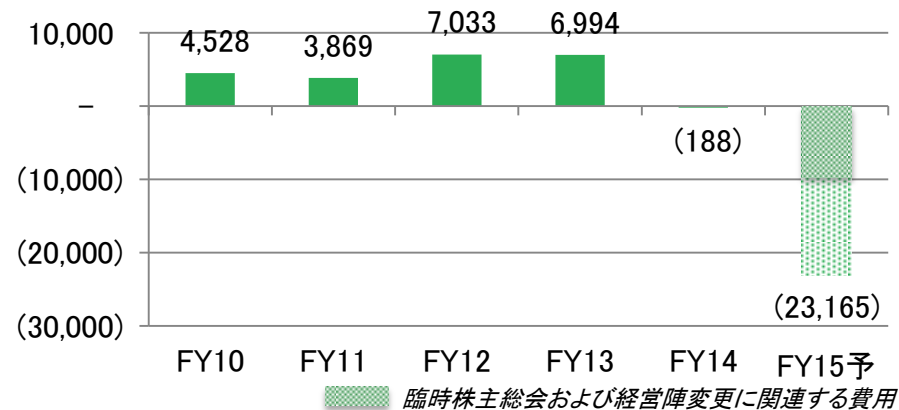


(単位:千米ドル)

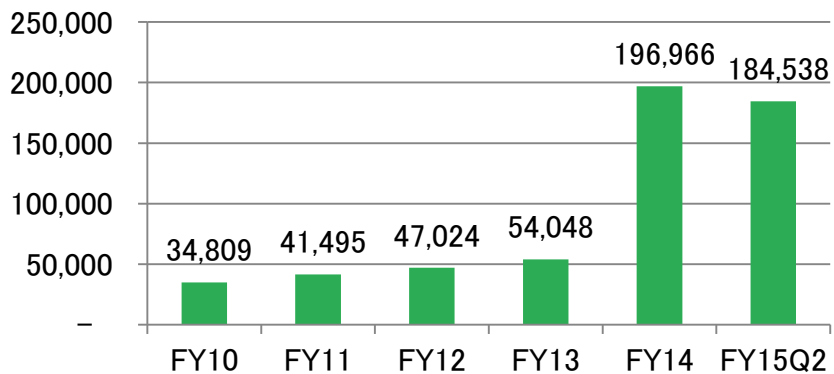
提携からの収益



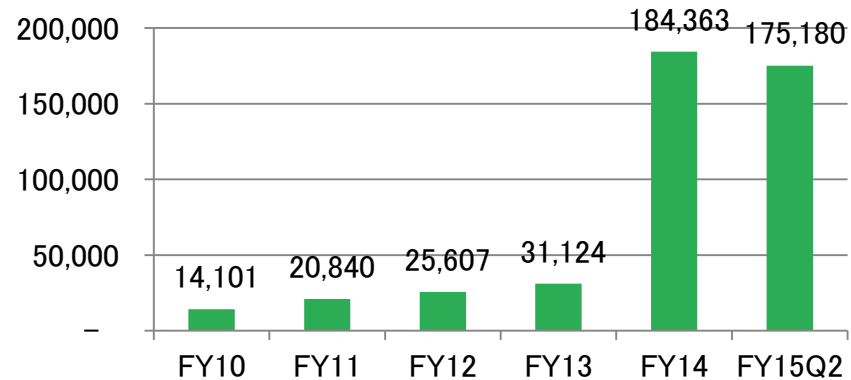
営業利益(損失)



資産合計



株主資本合計



(注)2010年度は未監査、2015年度業績予想はレンジ予想値をの平均値を記載

IR活動



直近のIR活動



日付	IR活動
5月14日	「エミクススタ塩酸塩」の前臨床データに関する論文が「PLOS ONE(プロス・ワン)」誌に掲載
5月20日	機関投資家、メディア向け説明会 (個人投資家には動画配信)
6月4日	「エミクススタ塩酸塩」の臨床第2a相試験の結果に関する論文が「RETINA: The Journal of Retinal and Vitreous Diseases」誌に掲載
6月11日	英語版IRサイトのリニューアル
6月16日	モーニングスターによるCEOインタビュー動画配信 「経営体制刷新でスタートを切るアキュセラ・インク」
7月1日	株主説明会 <ul style="list-style-type: none"> - 説明会に参加した93%の株主は、株式を保有し続ける、もしくは買い増しを考えていると回答¹
7月2日	R&Dミーティング
8月26日	第2四半期機関 投資家、メディア向け説明会 (個人投資家には動画配信)
8月28～29日	第10回日経IR・投資フェア2015



*2015年度株主説明会の様子

¹ 株主説明会に参加された81名の株主を対象にアンケートを行った結果、22名の株主は株式の買い増しを考えている、55名の株主は株式を保有し続けると回答。

今後のIR活動



企業価値の最大化は、当社の最も重要な事業戦略の一つであり、今後もより一層IR活動を強化するよう努めて参ります

- **機関投資家向けのIR活動：中長期で投資いただける機関投資家層を拡大**
 - 機関投資家・アナリスト向けの面談を随時実施
 - 機関投資家・メディア向け説明会およびスモールミーティングを年に4回実施
 - 海外機関投資家の訪問(10月北米、11月欧州を予定)
 - 投資銀行主催のヘルスケア・カンファレンスへの参加
- **個人投資家向けのIR活動：当社の認知度・理解度を高め、長期で保有いただける個人投資家を拡大**
 - IRサイトにおける個人投資家向けコンテンツのアップ
 - 個人投資家向けIRフェアへの参加(例：日経IR・投資フェア2015)
 - 証券会社と共同で、地方における個人投資家説明会の開催
 - メディアへの積極的露出

付属資料



「エミクススタト塩酸塩」開発の経緯

地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性治療薬候補
当社が自社開発した視覚サイクルモジュレーター化合物



- » 毒性試験
- » 前臨床試験
- » 探索研究

2005

2007

- » IND申請
- » ヒトでの臨床試験を開始

2008

- » 5件の臨床第1相試験実施
- » 臨床第2a相試験実施(GA患者対象)
- » 合計179例の被験者に「エミクススタト塩酸塩」を投与
- » FDAからファスト・トラック対象に指定

2009

- » 臨床第2b/3相試験被験者登録完了(合計508名)

2012

2013

2014

2016

- » 臨床第2b/3相試験開始
- » 投与期間2年の試験

- » 臨床第2b/3相試験トップラインデータの発表予定

(注)IND (Investigational New Drug)とは新薬臨床試験開始を指します。

(注)GA (Geographic Atrophy)とは地図状萎縮を指します。

臨床試験の概要



- 完了した臨床試験
 - 5件の臨床第1相試験実施(健常者)
 - 臨床第2a相試験実施(GA患者対象)
 - 合計179例の被験者に「エミクススタ塩酸塩」を投与
- 現在実施中の臨床試験－臨床第2b/3相試験(「シアトル試験」)
 - デザイン
 - GA患者を対象とし、「エミクススタ塩酸塩」の有効性と安全性をプラセボと比較する、無作為化⁽¹⁾、二重盲検用量範囲の2年間の探索試験
 - 合計508名の地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象に実施
 - 評価項目
 - 主要評価項目:本剤投与群の地図状萎縮の進行遅延効果をプラセボ投与群と比較
 - 副次的評価項目:
 - 安全性及び認容性
 - 最高矯正視力の変化
 - 脈絡膜新生血管(ウェット型加齢黄斑変性)に対する効果
 - 今後のマイルストーン
 - 当該24ヶ月の臨床試験のトプラインデータ⁽²⁾は2016年中旬頃を予定

(1) 無作為化:治療群を、治験責任医師等の判断ではなく、ランダムに割り付けて実施し評価を行う試験方法。出典:www.clinicaltrials.gov.

(2) トプラインデータ:トプラインデータとは、通常、臨床試験の結果が事前に設定された主要評価項目に達成したか否かを評価するための、ハイレベルな結果のことを言う。

知的財産戦略



視覚サイクルモジュレーション技術および「エミクススタト塩酸塩」に関する知的財産を取得し、特許ポートフォリオを戦略的に強化

2015年6月30日現在	「エミクススタト塩酸塩」 に関する特許		視覚サイクルモジュレーション技術 に関する特許		その他 特許	合計
	北米	北米外	北米	北米外		
地域	北米	北米外	北米	北米外		
取得特許	3	13	13	44	27	100
出願特許	2	52	13	90	18	175
特許失効期限	2029	2028-2033	2028-2034	2028-2034		

- 特許ポートフォリオの強化により企業価値の強化を図る
- 上記特許には、物質組成特許および用途特許が含まれる

主要メディア掲載例



- **日経デジタルヘルス**
起業家の条件、Acucela社の窪田氏が語る（2015年8月12日掲載）
- **日刊工業新聞**
創薬専業から脱皮 眼科領域で共同開発加速（2015年7月9日掲載）
- **BSスカパー「Newsザップ！」**
加齢黄斑変性、世界で初めての失明を防ぐ飲み薬開発、米国で起業した理由をテーマにゲスト出演（2015年6月1日放送）
- **日経バイオテク**
米Acucela社窪田氏、「企業買収や導入でパイプラインの拡充図る」（2015年5月21日掲載）
- **週刊東洋経済・東洋経済Online**
バイオのアキュセラが米国で起業したワケ（2014年5月16日掲載）
- **朝日新聞**
（あの人とこんな話）成長には痛みが伴うが筋トレ同様、鍛えられる（2014年4月15日掲載）
- **日経新聞**
「重い目の病に飲み薬」東証単独上場初の米企業に（2014年3月25日掲載）
- **週刊ダイヤモンド**
米国で起業しマザーズ上場 目のアルツハイマーを治す（2014年2月24日掲載）
- **TBS「夢の扉+」ドキュメンタリー**
世界の1億2000万人を“失明の危機”から救え！ 日本人トップイノベーターが挑む “不治の病”の治療薬開発（2013年10月27日放送）
- **ウォール・ストリート・ジャーナル**
世界を変える日本人—シアトルで起業した窪田良氏が挑む難病治療薬（2013年3月29日掲載）
- **PRESIDENT Online**
＜経営者の言葉：アキュセラCEO・窪田 良＞開眼！「朝令暮改」仕事術（連載中）

その他プレスは、当社ウェブサイトをご参照ください：www.acucela.jp



アキュセラは、世界中で数百万人の人々に影響を及ぼしている、視力を脅かす眼疾患を治療または進行を遅らせる可能性のある革新的な治療薬の探索および開発に取り組んでいる、臨床開発段階のバイオテクノロジー企業です。

