



アキュセラ (Acucela Inc.) 第3四半期 説明会資料

東京

2015年11月24日

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、視力の低下をまねく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
- 110件の特許を取得、175件の特許を出願中
(2015年11月10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3四半期で、166百万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3四半期ハイライト



直近のハイライト

日付	ハイライト
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
11月4日	臨床試験効率化を促す研究成果の発表（効率的な採血方法）を「Bioanalysis」誌に掲載しました

新経営体制

今後の長期的成長に向けて経験豊富な経営陣の卓越した
リーダーシップによる経営体制



窪田 良, MD, PhD
会長、社長兼最高経営責任者



ジョージ・ラズキー, PharmD, JD
ジェネラルカウンセル、
法務担当上級副社長

Allergan, Inc.
RetroSense Therapeutics,
Amakem Therapeutics NV,
Novagali Pharma, SA
Neurotech Pharmaceuticals, Inc.
Acuity Pharmaceuticals,
ISTA Pharmaceuticals, Inc.



ルーカス・シャイブラー, PhD
研究開発担当上級副社長

Alcon
Novartis Pharmaceuticals



ジョン・ゲブハート, MBA
最高財務責任者

Qliance Medical Management Consultant to Remote
Medical International, Ventripoint, and others



テッド・ダンス, MBA
最高事業責任者






Neurotech Pharmaceuticals, Inc.
ISTA Pharmaceuticals Inc., Allergan,
Inc., Coopervision, Bausch & Lomb,
Schering-Plough



ロジャー・ジラルド
最高事業戦略責任者

Xecutive Advisory Partners LLC
Terra Vista Software
CareCap, Bellevue,
Neuro-ID, IsoRay Medical

役員紹介

役員	経歴
 <p>窪田 良 MD、PhD</p>	アキュセラ・インク創業者 会長、社長兼最高経営責任者 (CEO)
 <p>浅子 信太郎</p>	DeNA West 最高経営責任者 前職: MediciNova, Inc.、最高財務責任者
 <p>三田 四郎 PhD</p>	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
 <p>中村 栄作</p>	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、Berevno Corporation、最高経営責任者兼社長、CanBas Corporation、社外取締役、株式会社アクティバスターマ 社外取締役
 <p>ロバート・タケウチ</p>	RTコンサルティング・インク 社長 前職: Softbank Investment America Corporation、社長、Softbank America、財務部長および秘書役、Credit Suisse First Boston 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 Quark Pharmaceuticals, Inc.、取締役

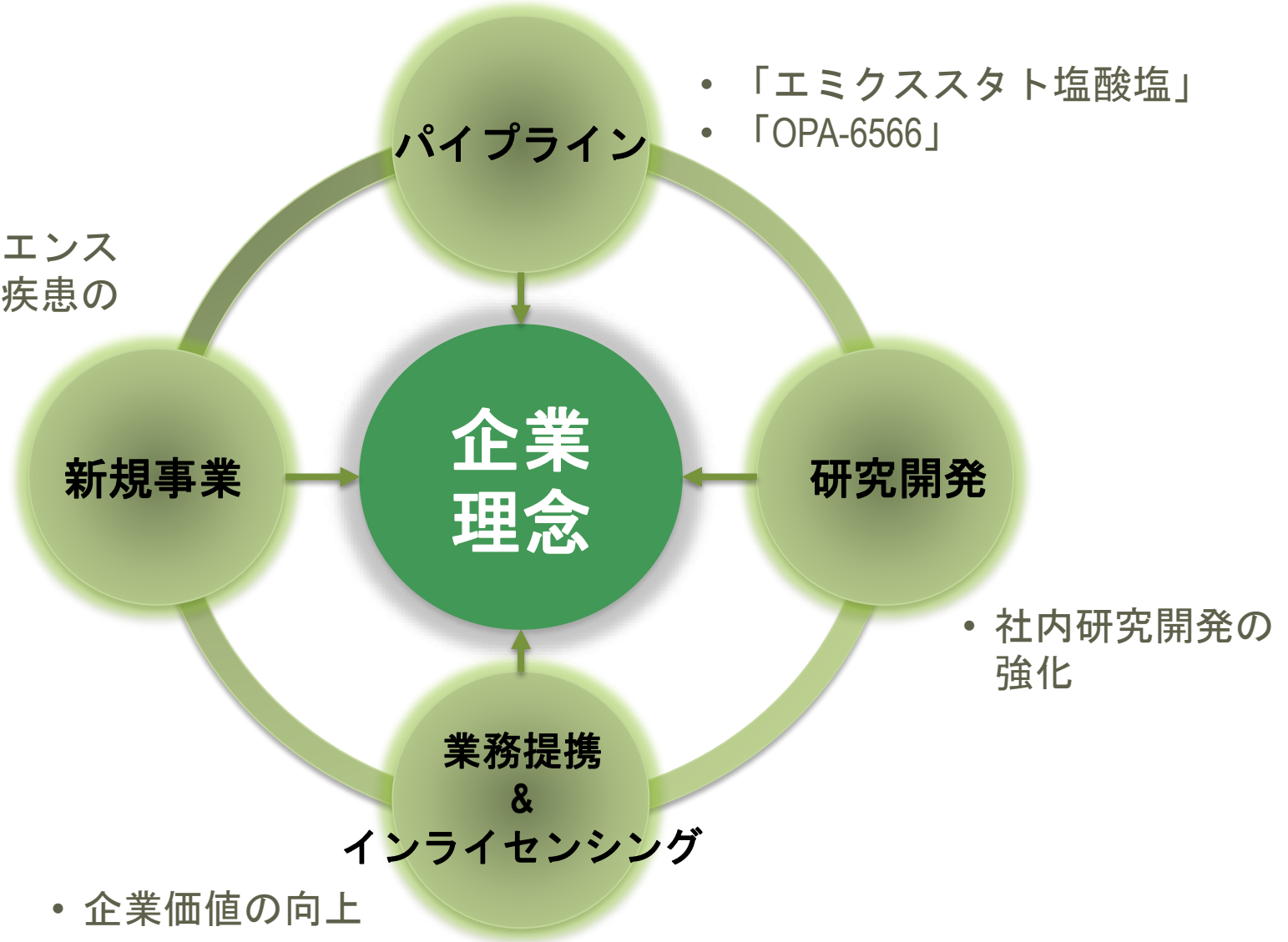
企業戰略



企業理念

視力の低下をまねく眼疾患の撲滅を目指し、革新的な新薬の開発に取り組む

- 革新的なサイエンスを応用し、眼疾患の治療に貢献



2015年度の取り組み

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10月時点で、臨床第2b/3相試験被験者の75%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

新規事業

その他疾患への応用

- 糖尿病性網膜症またはスターガード病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
- 社内研究開発投資の増加

業務提携 & インライセンシング

- 眼科領域に特化した企業とのパートナーリングおよびインライセンシングの査定

経営体制

- 研究開発担当上級副社長の採用
- 最高事業責任者の採用

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
エミクススタト塩酸塩 (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 	<p>共同 (50 / 50) : 北米</p> <p>当社単独: 欧州、南米、 アフリカほぼ全域</p> <p>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</p>	<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、「エミクススタト塩酸塩」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3四半期決算概要



損益計算書の概要

(単位: 千米ドル、千円)

	2014年度	2015年度	2014年度	2015年度	差異の理由
損益計算書	米ドル	米ドル	日本円	日本円	
提携からの収益	27,751	21,524	3,329,010	2,582,019	「エミクススタ塩酸塩」の臨床試験に関わる費用の減少による大塚製薬への請求可能な活動の減少
費用					
研究開発費	19,974	17,764	2,396,081	2,130,969	
エミクススタ塩酸塩	19,191	16,569	2,302,196	1,987,619	「エミクススタ塩酸塩」の臨床試験に関わる費用の減少による大塚製薬への請求可能な活動の減少
インライセンス ⁽¹⁾	23	4	2,758	426	
社内研究 ⁽²⁾	760	1,191	91,127	142,924	当社の社内研究開発費の増加、臨床業務および研究に直接従事する従業員の退職金および残留手当の支払い
一般管理費	7,272	21,772	872,349	2,611,770	
一般管理費	7,272	10,272	872,349	1,242,270	新たな総勘定元帳システム、監査サービスおよびエクイティ・コンプライアンス、エンタープライズ・リスク・マネジメント(ERP)システムの新規導入、短期契約社員の雇用などに関する費用(約1.0百万米ドル)
臨時株主総会および 経営陣変更に関連する費用		11,500		1,369,500	退職関連コスト(退職金および株式報酬費用)の7.7百万米ドルおよび弁護士・コンサルティング費用の1.5百万米ドル。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)	505	(18,012)	60,580	(2,160,720)	
四半期純利益(損失)	(1,411)	(17,228)	(169,263)	(2,066,671)	

(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(主にVCM化合物)

(注) 2015年9月30日の為替レートを使用(1米ドル = 119.96円)

キャッシュフローの概要

(単位:千米ドル、千円)

	2014年度	2015年度	2014年度	2015年度	差異の理由
キャッシュフロー	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	11,016	(18,609)	1,321,465	(2,232,315)	現金流出は主に、当四半期純損失が17.2百万米ドル(21億円)および提携からの繰延収益が6.2百万米ドル(7.5億円)減少したことによる
投資活動によるキャッシュフロー	(124,066)	9,138	(14,882,942)	1,096,152	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	148,317	(1,140)	17,792,106	(136,755)	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)	187,819	165,545	22,530,765	19,858,754	

- 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9月30日の為替レートを使用(1米ドル = 119.96円)

貸借対照表の概要

(単位:千米ドル、千円)

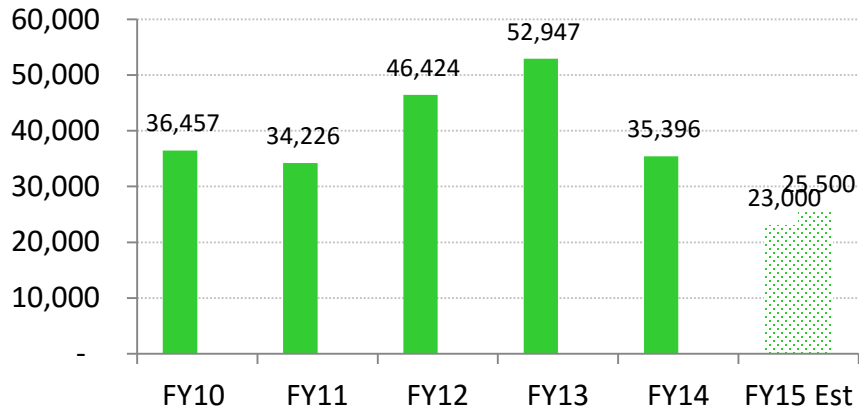
	12/31/2014	9/30/2015	12/31/2014	9/30/2015	差異の理由
貸借対照表	USD	USD	JPY	JPY	
流動資産	111,714	122,379	13,401,208	14,680,562	
現金および現金同等物、 短期投資	103,786	108,342	12,450,167	12,996,683	
固定資産	85,252	58,455	10,226,829	7,012,261	
長期投資	84,033	57,203	10,080,598	6,862,071	
資産合計	196,966	180,834	23,628,037	21,692,823	
流動負債	12,556	7,150	1,506,214	857,690	
長期負債	47	1,140	5,638	136,755	当社本社施設の長期繰延賃借料およびリース・インセンティブ、その他の長期負債
株主資本	184,363	172,544	22,116,185	20,698,378	

(注) 2015年9月30日の為替レートを使用(1米ドル = 119.96円)

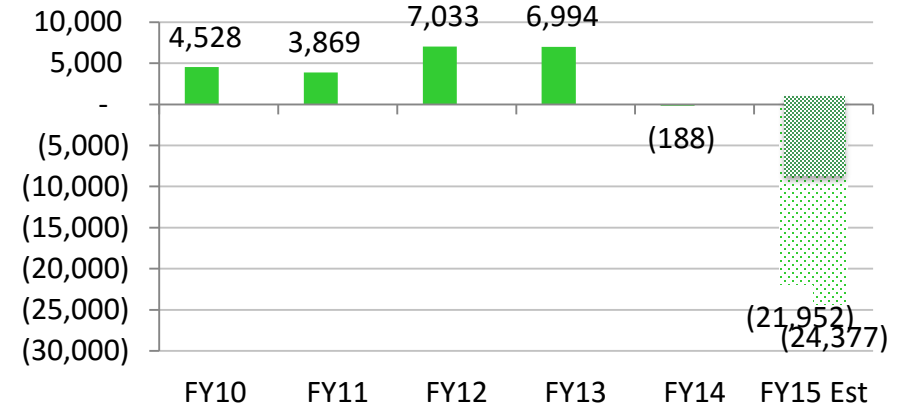
財務概要

(単位: 千米ドル、千円)

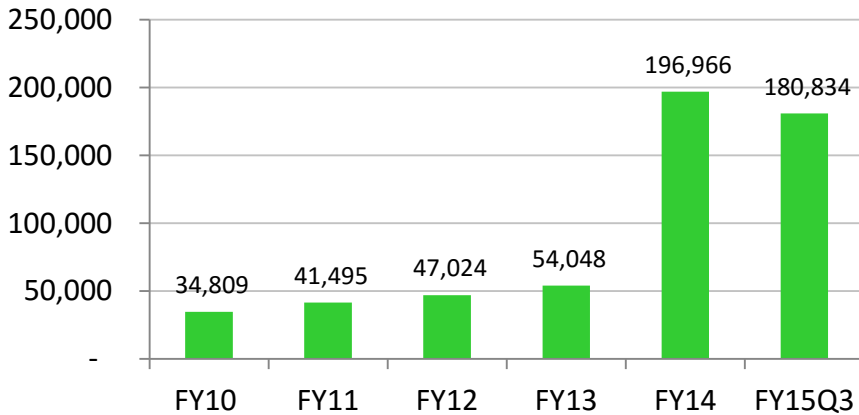
提携からの収益



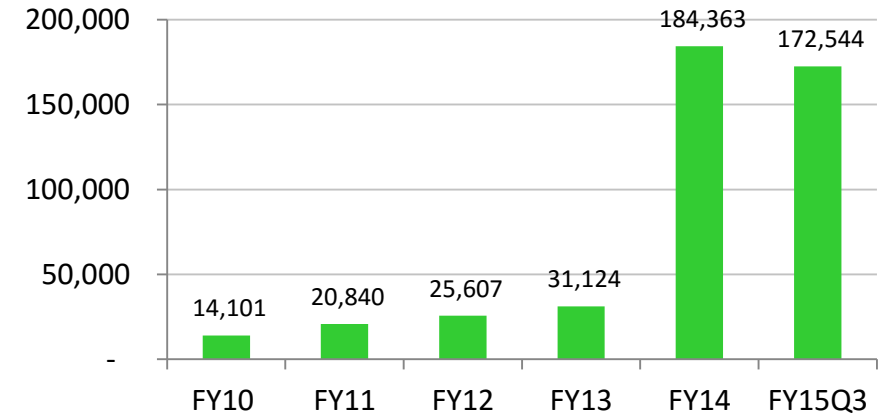
営業利益(損失)



資産合計



株主資本合計



IR・PR活動



直近のIR活動

日付	IR活動
8月26日	第2四半期機関 投資家、メディア向け説明会
8月28～29日	第10回日経IR・投資フェア2015 <ul style="list-style-type: none"> 説明会に参加した54%の株主は、株式を買い増しもしくは保有し続けることを考えていると回答¹
8月28日	個人投資家向けIRウェブサイトの更新 <ul style="list-style-type: none"> http://ir.acucela.jp/story/index.html
10月13日～15日	ニューヨーク、ボストンでの機関投資家向けノン・ディール・ロードショー <ul style="list-style-type: none"> バイオテックに特化した米国外国投資家との個別面談
10月23日	ジャパニーズインベスター87号に当社の記事を掲載
11月17日	ロンドンでの機関投資家向けノン・ディール・ロードショー <ul style="list-style-type: none"> バイオテックに特化した米国外国投資家との個別面談
11月18日	ジェフリーズ・ヘルスケア・カンファレンス(ロンドン)
11月19日	バークレイズ・ジャパン・コーポレート・デー(ロンドン)
11月24日	第3四半期 アナリスト向けスモールミーティング
12月3日	SBI証券主催「個人投資家向けインターネット会社説明会」
12月14日	「会社情報」への広告

¹ 株主説明会に参加された375名の株主を対象にアンケートを行った結果、174名の株主は株式の買い増しを考えている、27名の株主は株式を保有もしくは買い増しすると回答。



第10回日経IR・投資フェア2015ーアキュセラブースの写真

ジャパニーズインベスター87号ー当社サイトで閲覧できます

主要メディア掲載例

- 東洋経済Online
アキュセラ、近く新たなパイプラインを発表、経営復帰から5カ月の窪田良CEOに聞く（2015年10月2日掲載）
- J-Wave「JAM THE WORLD」ラジオ番組
「Breakthrough!」コーナーに窪田良が生出演。著書紹介、アキュセラの治療薬開発と挑戦を語る（2015年9月18日放送）
- ABCラジオ「おはようパーソナリティ道上洋三です」
「話のダイジェスト」コーナーに窪田良が生出演。起業の経緯、加齢黄斑変性、アキュセラの治療薬開発について語る（2015年9月17日放送）
- 日経ビジネスONLINE
キーパーソンに聞く「革新は“プロ経営者”より研究者の情熱が生む」（2015年9月7日掲載）
- 日経バイオテク
米Acucela社の第2四半期決算説明会、フェーズIIb/IIIで約250人の被験者の投薬終了（2015年8月29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）

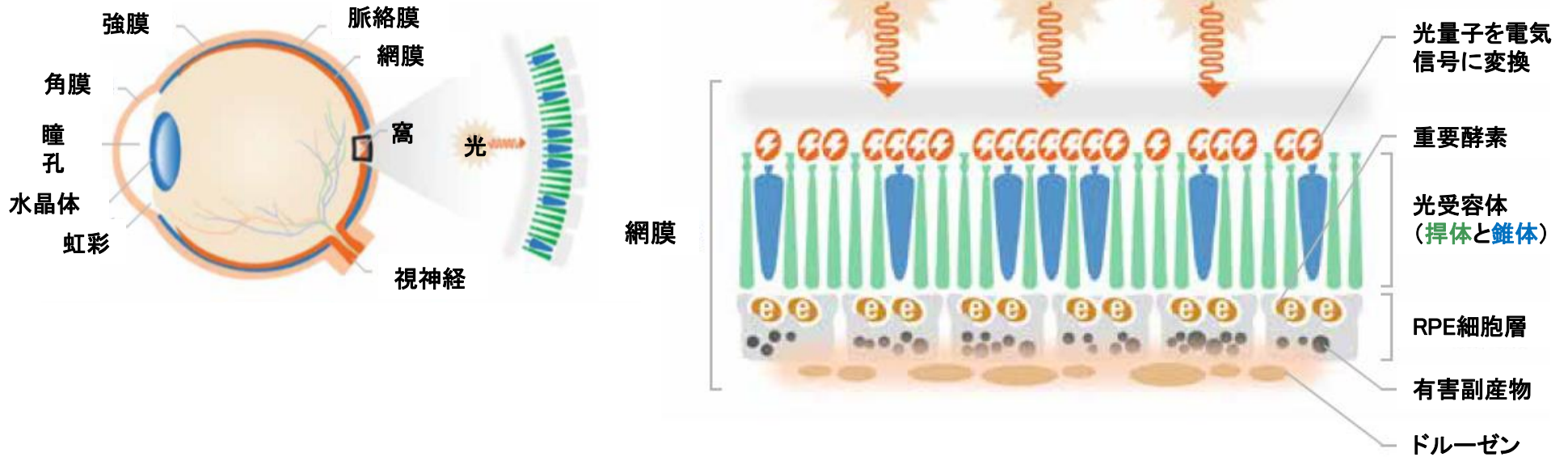
その他メディア掲載については、当社ウェブサイトをご参照ください：www.acucela.jp

付属資料



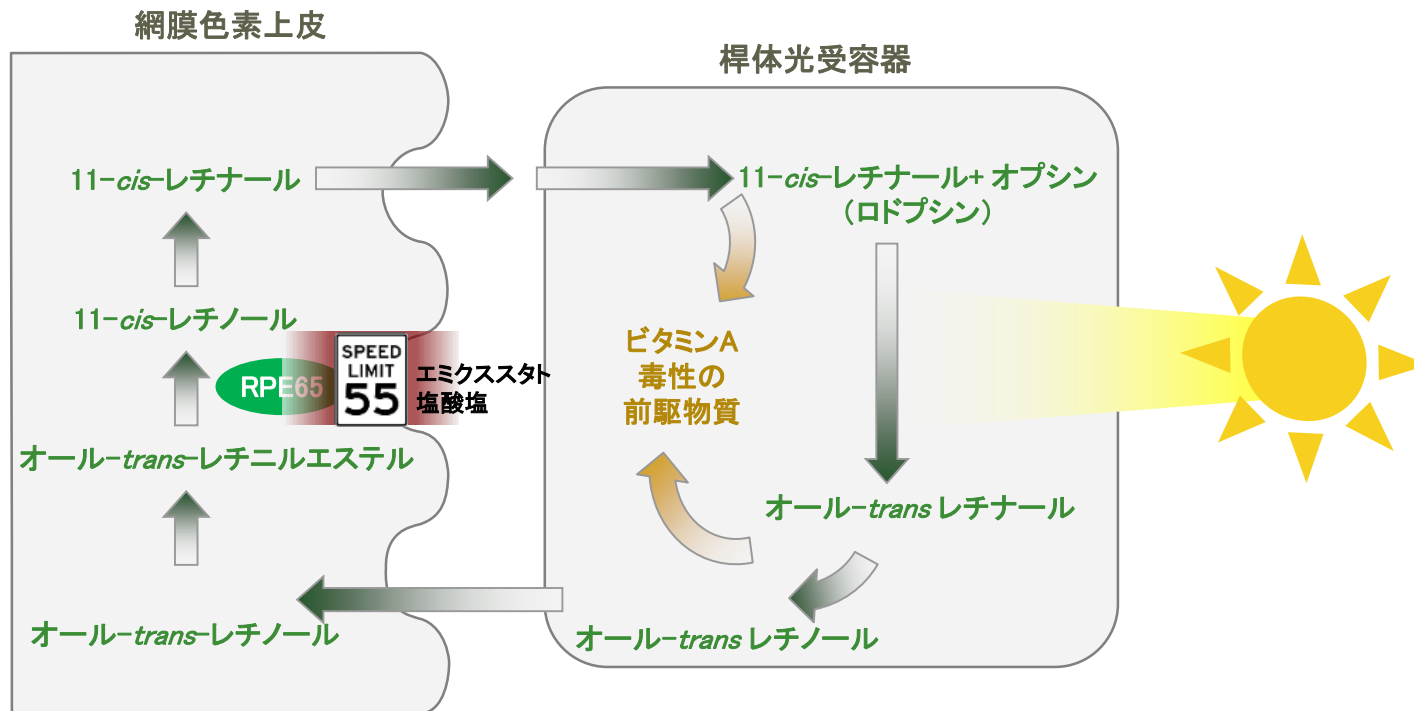
視覚サイクル

視覚サイクルとは、食物により摂取されたビタミンAが光に過敏な物質へと変換される生物学的プロセスのことで、このプロセスは網膜内のRPE細胞で行われます。視覚サイクルは、強い光に暴露されると過剰に活動し、ビタミンA由来の有害副産物が産生されます。



「エミクススタ塩酸塩」の働き

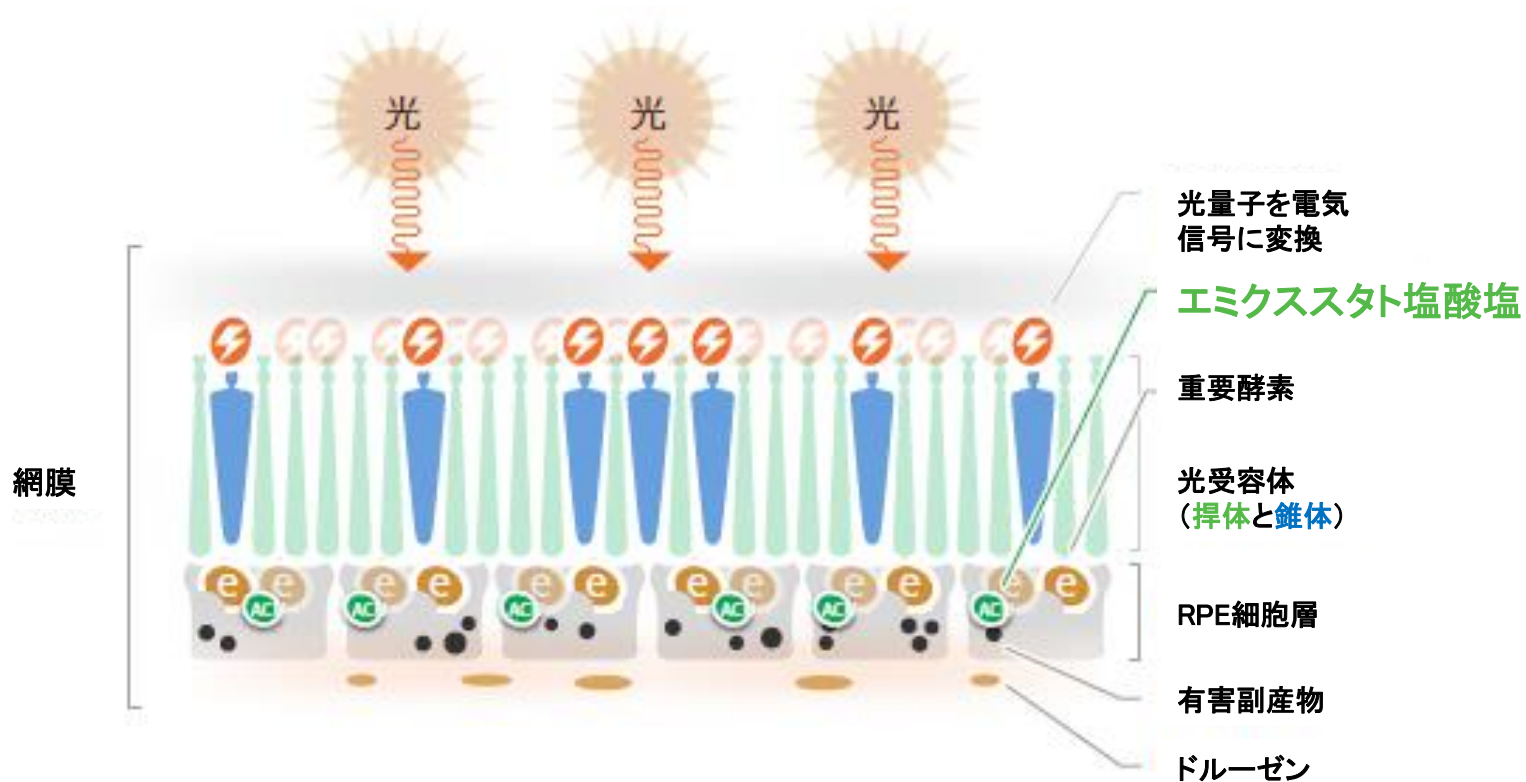
視覚サイクルが生成するビタミンA関連毒素を抑制



- 哺乳類の視覚サイクルでは、イソメラーゼの一つであるRPE65が、ビタミンAを視覚発色団である11-cisレチナールに転換する重大な役割を果たす
- 視覚発色団は、桿体光受容体中のオプシンと結合してロドプシンを形成する
- ロドプシンの光活性化により、電気化学カスケードを引き起こし、その結果視覚が生じる
- 11-cisレチナールと光活性化されたロドプシン(オール-transレチナール)は、自然発生的に膜脂質と反応する可能性があり、A2EのようなビタミンA毒性を生成する

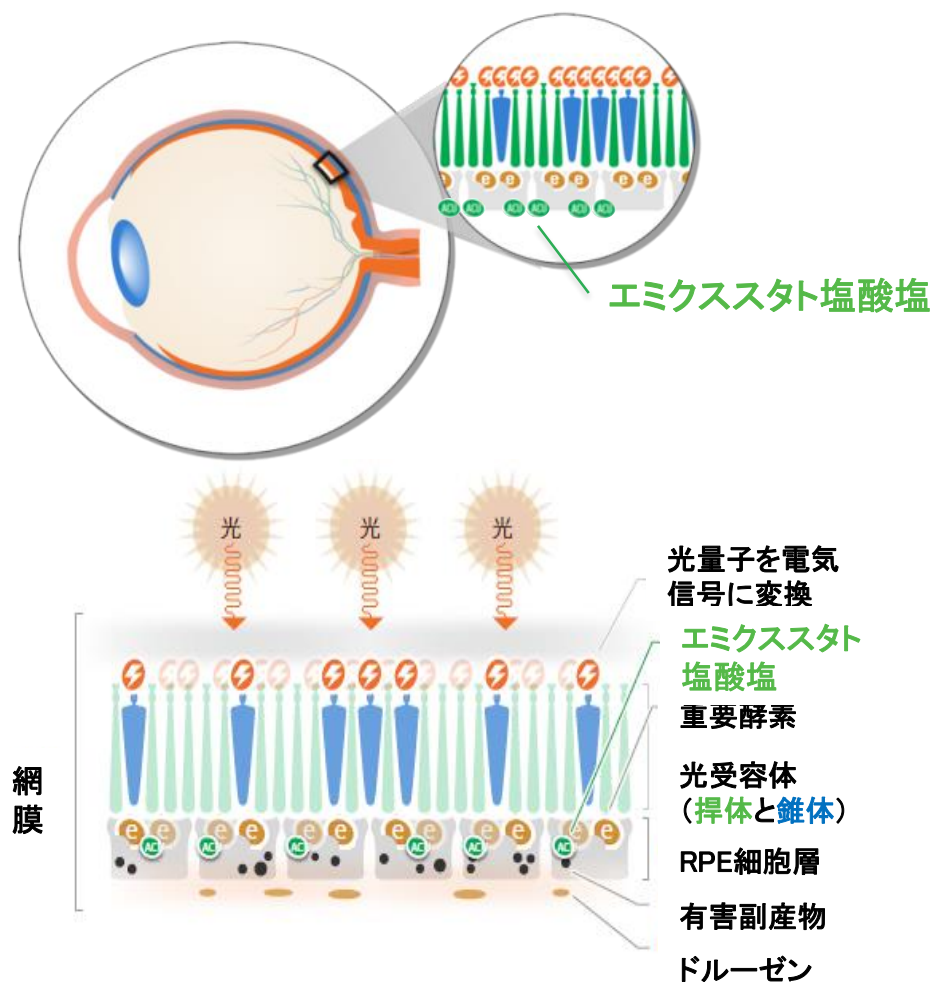
視覚サイクルモジュレーション技術

視覚サイクルモジュレーションは、非レチノイド型の低分子化合物により、視覚サイクル内の特定タンパク質に選択的に作用します。視覚サイクルモジュレーション化合物は、網膜内の有害副産物を抑制し、網膜の細胞層を保護することを目的としています。当社は、この分野における主導的地位を確立しています。



主要治療薬候補 「エミクススタ塩酸塩」の概要

- 非レチノイド⁽¹⁾ 低分子化合物⁽²⁾
- 経口投与が可能
- 視覚サイクル活動を減少させることにより、網膜に蓄積する有害副産物の生成を抑制
- 視覚サイクルを制御している網膜内の主要酵素（RPE細胞）に作用
- エレクトロレチノグラム（ERG）を通して、網膜内の生物学的効果の測定が可能⁽³⁾



(1) 非レチノイド: 全身に存在しているビタミンA核内受容体であるレチノイン酸受容体には作用せず、レチノイド特有の副作用が無い

(2) 低分子化合物: 高分子化合物と比較すると、非常に小さい分子化合物。低分子化合物は、その構造ゆえ細胞膜に浸透しやすい性質を持つ

(3) エレクトロレチノグラム (ERG) とは、網膜電図検査のことで、網膜の働きが正常かどうかを調べる検査

「エミクススタ塩酸塩」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

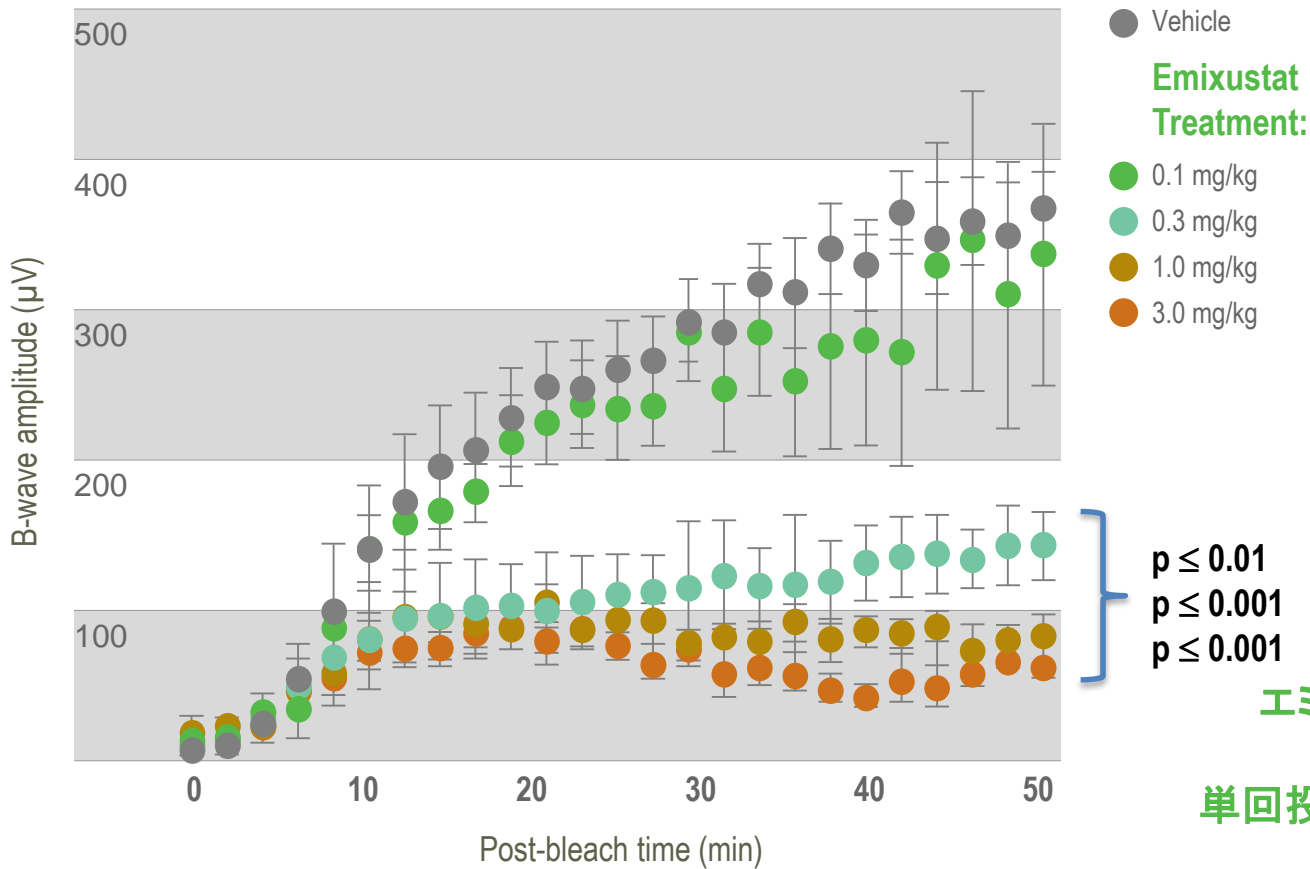
(注)IND (Investigational New Drug)とは新薬臨床試験開始を指します。

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

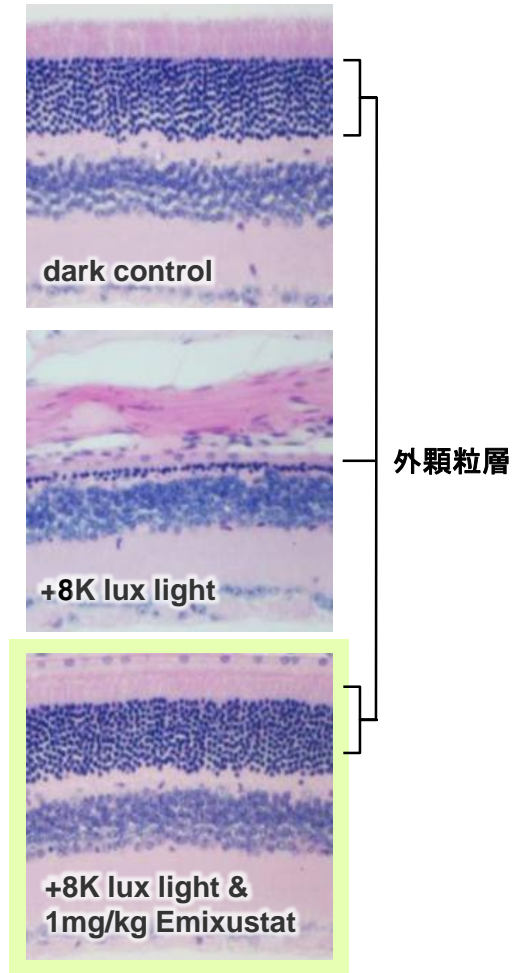
「エミクススタト塩酸塩」前臨床試験結果

外顆粒層を保護し、桿体細胞の活動を用量依存的に抑制

前臨床データ (単回投与後の網膜電図)



光の損傷からの保護 (マウスモデル)

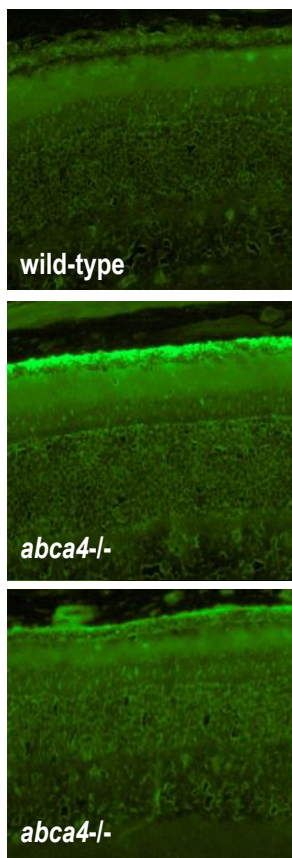


Modified From: Bavik C, Henry SH, Zhang Y, Mitts K, McGinn T, Budzynski E, et al. (2015) Visual Cycle Modulation as an Approach toward Preservation of Retinal Integrity. PLoS ONE 10(5): e0124940. doi:10.1371/journal.pone.0124940

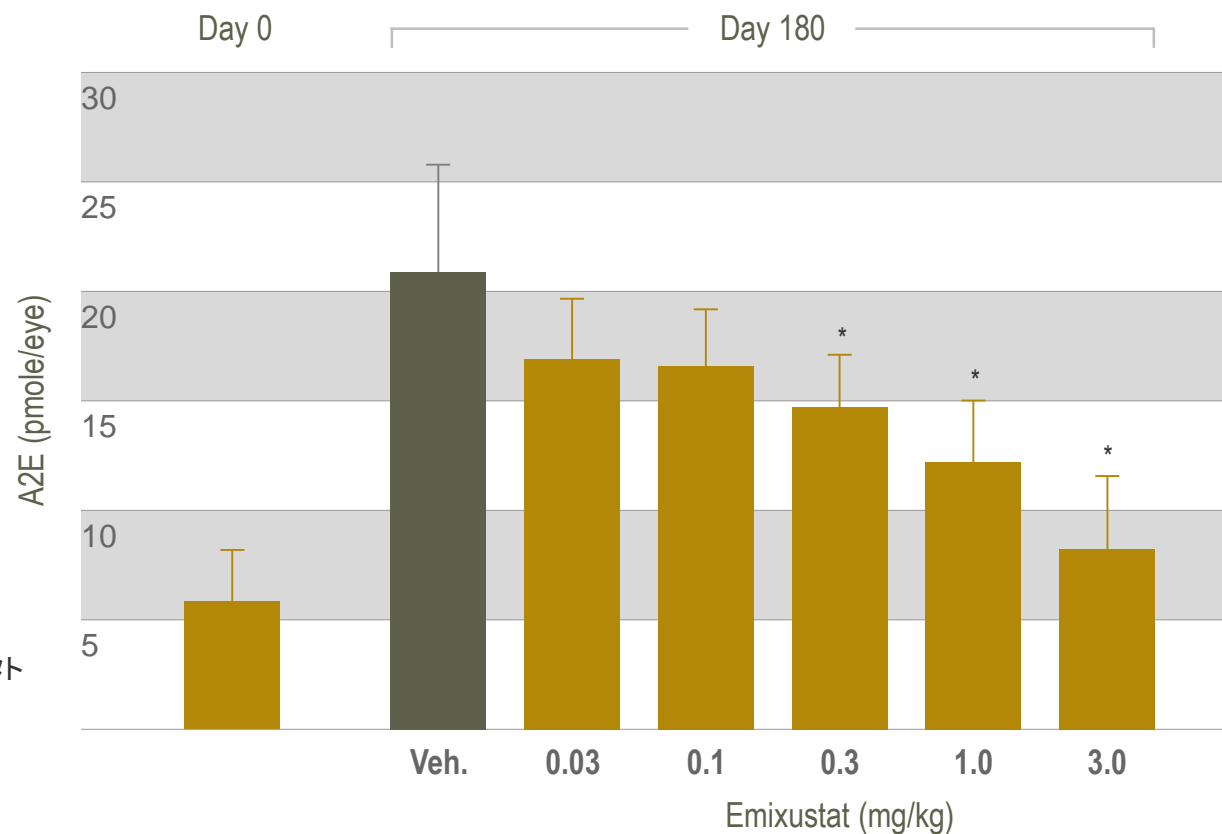
「エミクススタト塩酸塩」によるA2E減少効果

abca4^{-/-}マウスを用いた3ヶ月間投与薬効試験

A2E/リポフスチンの減少

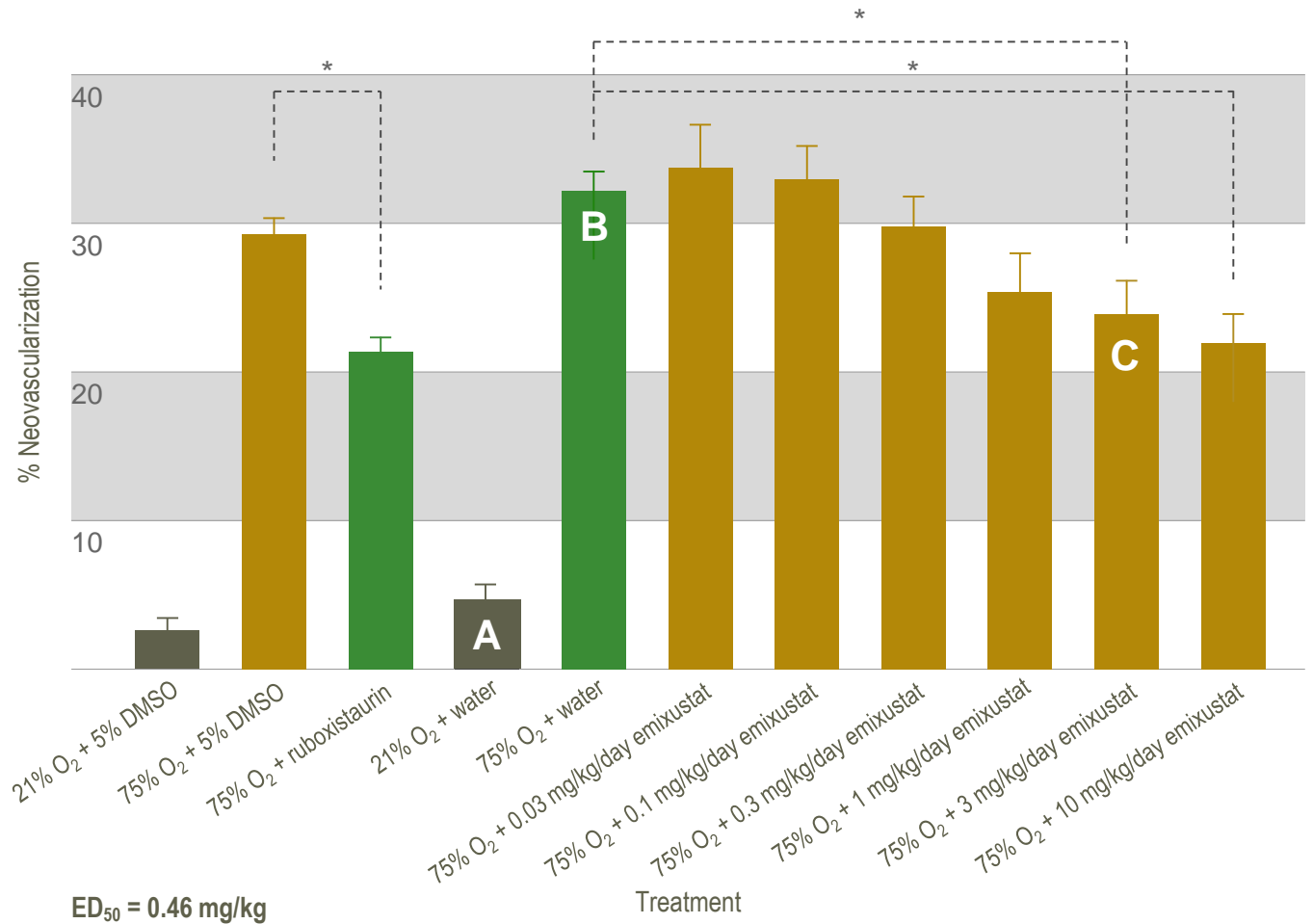
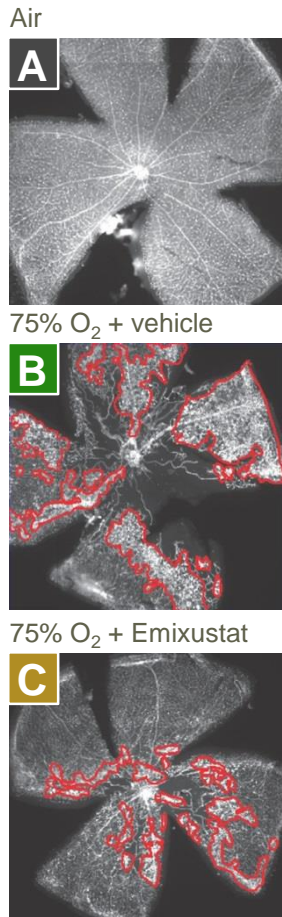


エミクススタト
(3 mg/kg)
3ヶ月投与



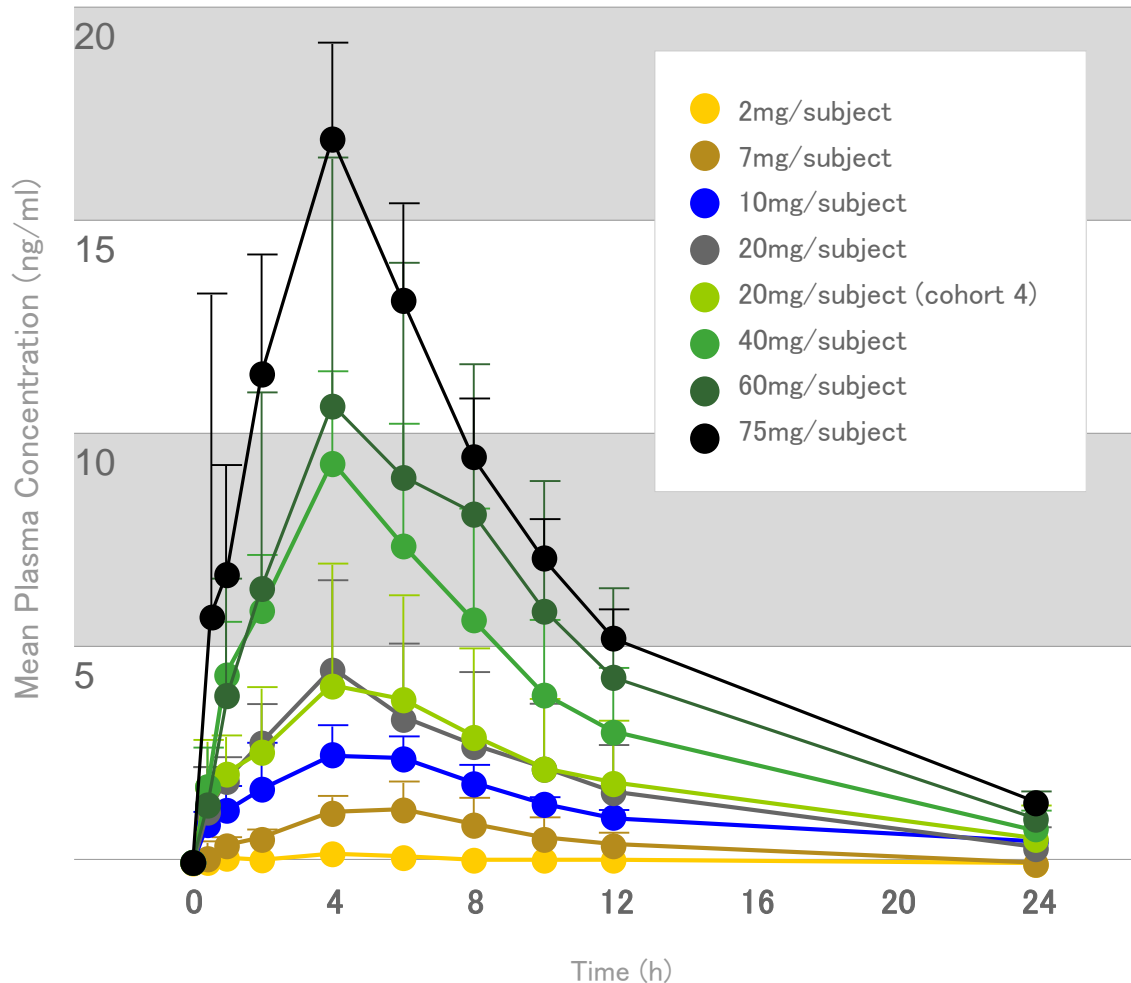
Modified From: Bavik C, Henry SH, Zhang Y, Mitts K, McGinn T, Budzynski E, et al. (2015) Visual Cycle Modulation as an Approach toward Preservation of Retinal Integrity. PLoS ONE 10(5): e0124940. doi:10.1371/journal.pone.0124940

「エミクススタト塩酸塩」 新血管形成抑制作用



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

「エミクススタト塩酸塩」 臨床第1a相試験結果経口投与での薬物動態



- 臨床第1相試験: 健常人ボランティアを対象とした単回投与漸増試験
- 薬物血中濃度－時間曲線下面積 (AUC) と投与量に相関性がみとめられた
- 最大血漿中濃度 (C_{max}) も投与量に応じて増加
- 「エミクススタト塩酸塩」は消化官により容易に吸収された

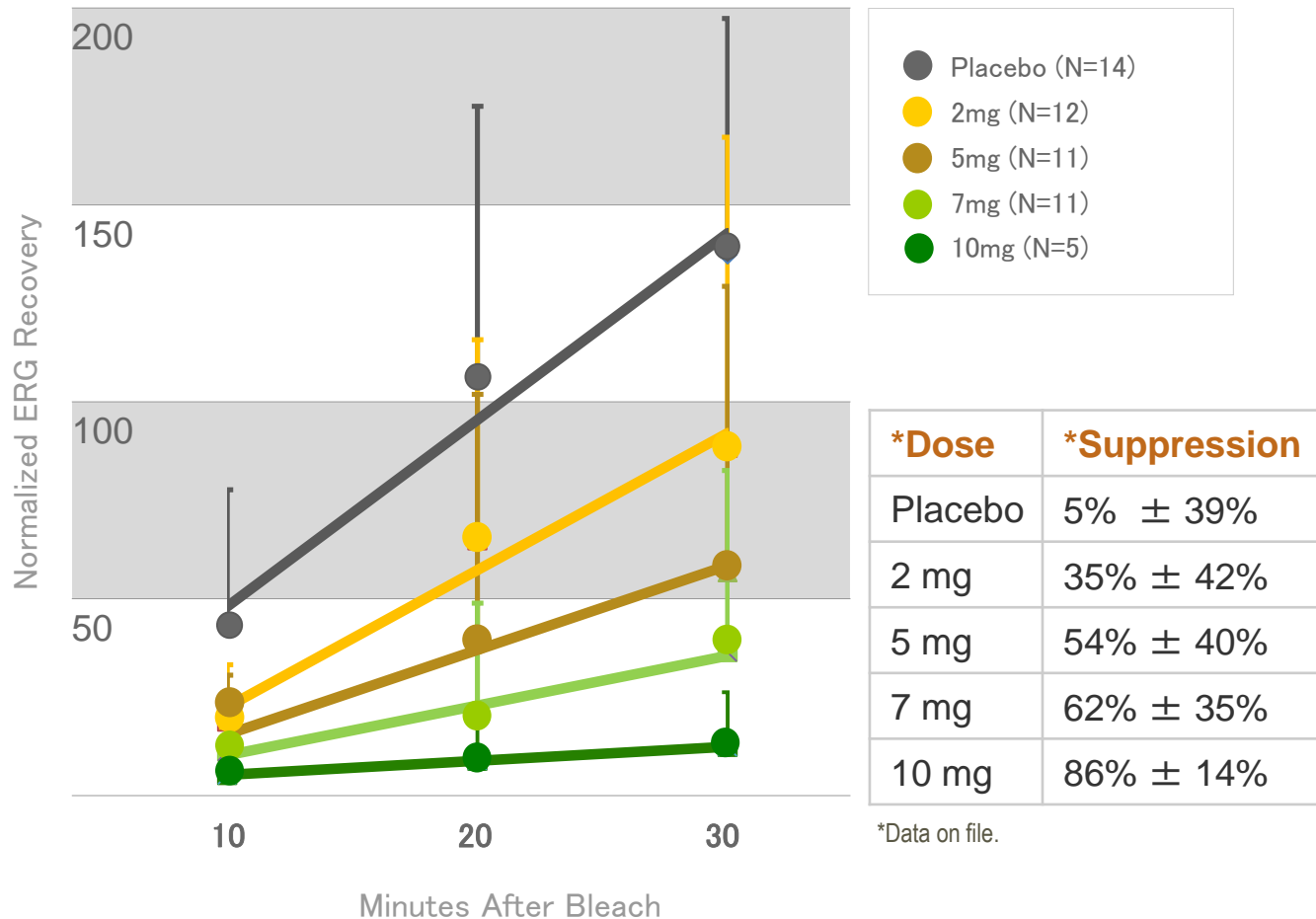
出典: Kubota, R, Bowman, NL, David R, et al, *Safety and effect on rod function of emixustat, a novel small molecule visual cycle modulator*, *Retina* 2012; 32: 183 – 8.

「エミクススタト塩酸塩」

臨床第2a相試験

- 臨床第2a相試験デザイン
 - 「エミクススタト塩酸塩」の安全性と忍容性および薬理効果を確認することを目的とした無作為化プラセボ対照二重盲検複数回投与試験
 - 計72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
 - 2012年10月に完了
- 本試験の目的
 - 「エミクススタト塩酸塩」を1日1回90日間にわたって経口投与を行った場合の容量依存的な薬理効果とその副作用及びその他安全性情報の評価
 - 網膜電図検査（ERG）を指標とした「エミクススタト塩酸塩」の網膜に対する薬理作用の検証
- 試験結果の概要
 - 「エミクススタト塩酸塩」投与による全身的有害事象はほとんど確認されず、容量依存的な薬理効果を確認
 - 網膜電図検査（DRG）データにより、「エミクススタト塩酸塩」の網膜視覚細胞の活動に対する容量依存的効果を確認
 - 「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2016年6月号『Retina』誌に掲載

GA患者に対する「エミクススタト塩酸塩」の視覚サイクル抑制反応（投与14日目）



- 地図状萎縮を伴う黄斑変性患者に対し、「エミクススタト塩酸塩」が用量依存的にERG b波の桿体反応を抑制することが確認された
- ERGレスポンスの平均値を投与14日目、30日目、60日目に測定。解析の結果、投与14日目に定常状態に達することが確認された
- ERG b波レスポンスの平均値は「エミクススタト塩酸塩」投与後7日から14日以内にほぼベースライン付近まで回復した

出典: Birch, D, Chandler J.D., Reaves, A, et al, Prolonged Rod Visual Cycle Suppression with ACU-4429 in Patients with Geographic Atrophy, ARVO Poster D1062, 2012.

臨床第2a相試験結果

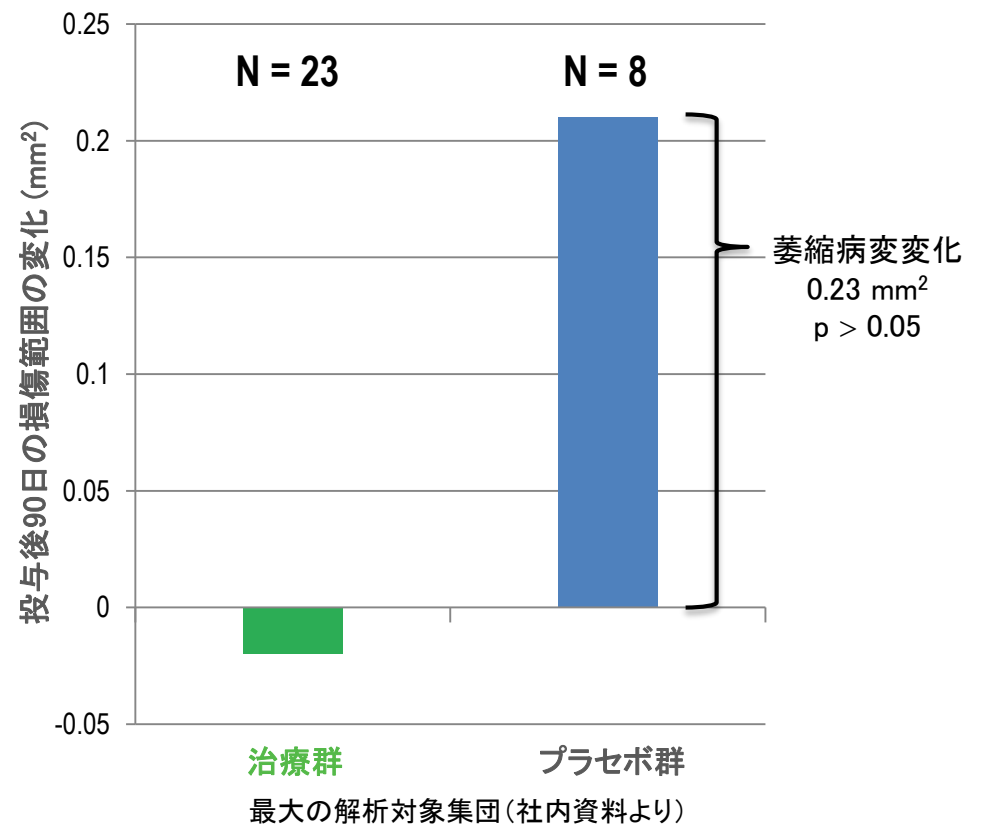
「エミクススタト塩酸塩」投与後90日の萎縮病変分析

投与開始から90日経過後の病変の変化
Lesion Size Change From Baseline at Day 90

	プラセボ (N=18)	Mean (SD) Change From Baseline for Study Eye エミクススタト塩酸塩*		
		2mg qAM (N=12)	5mg qAm (N=12)	5mg 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	<u>0.2 (0.4)</u>	<u>-0.1 (1.4)</u>	<u>0.0 (0.2)</u>	<u>0.0 (1.0)</u>
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.

プラセボ投与を対照群として、エミクススタト塩酸塩を90日投与し、萎縮病変の変化を比較 (FAF)



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 を参考に作成

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、「エミクススタト塩酸塩」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
- 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11月10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	15	16	49	27	110
出願特許	4	52	11	107	1	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



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、視力の低下をまねく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。

