



アキュセラ (Acucela Inc.) 2015年通期決算 説明会資料

東京

2016年3月29日

アキュセラは、臨床開発段階の眼科医療ソリューション・カンパニーです。失明や著しい視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索および開発に取り組んでいます。



免責事項

本公表文には、1933年米国証券法Section 27A、1934年米国証券取引所法Section 21Eおよび1995年米国私募証券訴訟改革法において定義される将来の見通しに関する記述 (forward-looking statements) が含まれています。本公表文における歴史的事実以外に係る記述は、将来の見通しに関する記述とみなされる可能性があります。これらの将来の見通しに関する記述は、当社が本三角合併を実行できる可能性、日本持株会社が東京証券取引所マザーズ市場への上場の承認を得られる可能性、本三角合併において期待された利益を実現できる可能性、本三角合併に係る想定コスト(かかるコストは想定よりも大きくなり得ます。)、当社および日本持株会社が本三角合併の実行条件を充足できる可能性、税法、租税条約および税制の解釈またはそれらの執行、経営企画活動や新規事業の最終的な成功の可能性、当社の製品開発計画およびその実現可能性、当社およびその提携先による進行中の臨床試験や臨床前の開発活動の時期およびその結果、当社およびその提携先の製品候補の潜在的な効能、将来の開発計画および商業的可能性ならびに進行中の開発プログラムの進捗および将来性に関する記述を含みます。これらの記述は、かかる「将来の見通しに関する記述」において記載または示唆された結果、事象または事由と、実際に生じた結果、事象または事由との間に重大な差異を生じさせようとするリスク、不確実性およびその他の要素に関する現時点の仮定に基づくものです。これらのリスクや不確実性の多くは、当社のコントロール外にあり、当社が本三角合併について必要な株主からの承認を得ることができない可能性があること、当社が本三角合併を取りやめる可能性があること、本三角合併の実行条件が充足されない可能性があること、当社の本社の日本への移転に伴う問題により、会社運営の実効性・効率性が低下する可能性があること、本三角合併について想定外の費用、責任または遅延が生じる可能性があること、本三角合併を取り巻く不確実性により当社の事業が毀損する可能性があること、当社が本三角合併において期待された利益を実現できない可能性があること、本三角合併が当社の従業員、供給元、提携先、同業者および投資家等との関係に悪影響を及ぼす可能性があること、本三角合併に対する批判的な報道等により当社の事業や当社の普通株式の株価に悪影響が生じる可能性があること、本三角合併により当社の普通株主に対する課税上の影響が生じる可能性があること、その他の経済、事業または競争上の要素により当社が悪影響を受ける可能性があること、当社の臨床試験用医薬品候補が想定された安全性や効能を有しない可能性があること、当社の臨床前の開発努力によっても製品候補が生まれない可能性があること、当社またはその提携先の臨床試験用医薬品候補について、開発に失敗し、必要とされる規制上の承認を取得できず、または遅延の結果商業的に実

免責事項

用化できない可能性があること、当社の臨床試験用医薬品候補「エミクススタ塩酸塩」の成功は、共同開発の継続に関する提携相手方の意向に大いに依存すること、当社の臨床試験が遅延する可能性があること、競争の激しい眼科製薬市場においては、新製品等の開発により、当社の臨床試験の計画変更を余儀なくされたり、臨床試験用医薬品候補の潜在的な利益が制約される可能性があること、製品開発および臨床活動を拡大することによる営業費用への影響、一般的な国内外の経済市況の悪化、ならびに当社が米国証券取引委員会（以下「SEC」）に提出する書類において記載されるその他のリスクが含まれますが、これらに限られません。これらの将来の見通しに関する記述は、本公表文の日付現在の記述であり、当社はこれらの将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。また、かかる将来の見通しに関する記述に過度に依拠することのないようご注意ください。上記のリスクおよびその他のリスク要因の詳細については、当社によるSECへの提出書類をご参照ください。当該提出書類は、当社のIRウェブサイト(<http://ir.acucela.com/>)およびSECのウェブサイト(<http://www.sec.gov>)より入手可能です。

追加情報およびその取得場所

本公表は、証券の売付けの申込み、買付けの申込みの勧誘、または議決権行使もしくは承認の勧誘を構成するものではなく、また、当該法域の証券法に基づき未登録または無資格で行うかかる申込み、勧誘または売付けが違法とされるような法域において証券の売付けを行うものでもありません。本三角合併は、当社の株主の皆様が検討を行うため、株主総会に付議されます。日本持株会社は、SECに対してフォームS-4に基づく登録届出書(Registration Statement)を提出する予定であり、当該登録届出書には、日本持株会社の予備的目論見書や当社の予備的委任勧誘状が含まれる予定です。また、日本持株会社および当社のそれぞれは、SECに対し、本三角合併に係る関連書類を提出する予定です。最終委任勧誘状・目論見書は、SECによりフォームS-4の効力が発生した旨公表された後に、当社の株主に対して郵送される予定です。委任勧誘状・目論見書(それらの全ての訂正および追補を含みます。)その他SECに提出される関連書類には、日本持株会社、当社および本三角合併に関する重要な情報が含まれる予定ですので、投資家および株主の皆様におかれましては、入手可能となり次第、これらの書類を注意してお読みいただくようお願いいたします。投資家および株主の皆様は、委任勧誘状・目論見書その他SECに提出される関連書類について、(それらが閲覧可能な状態

免責事項

になった時点で)SECのウェブサイト(www.sec.gov)または当社のIRウェブサイト(ir.acucela.com)から自由にそれらの写しを取得することができます。投資家および株主の皆様は、当社または日本持株会社によりSECに提出された報告、届出その他の情報を、ワシントンD.C.20549、100 F Street, N.E.に所在するSECの公開閲覧室において、閲覧および謄写することもできます。SECの公開閲覧室に関する追加情報については、SECまで電話(電話番号:1-800-SEC-0330)をしていただくか、またはSECのウェブサイトでご確認いただきますようお願いいたします。投資家および株主の皆様は、委任勧誘状・目論見書その他SECに提出される関連書類について、(それらが閲覧可能な状態になった時点で)当社のIR室(Investor Relations)に直接郵送(住所:ワシントン州、シアトル市、セカンド・アベニュー1301、スイート4200)または電話(電話番号:(206) 805-8300)で依頼することにより、無料でそれらの写しを取得することもできます。

委任状勧誘の主体

当社ならびにその取締役および執行役は、本三角合併に関して、当社の株主の皆様からの委任状を勧誘する主体とみなされる可能性があります。当社の取締役および執行役についての情報は、2016年3月11日にSECに提出された当社のフォーム10-Kに基づくアニュアル・レポートに記載されており、また、フォームS-4ならびに1934年米国証券取引所法(その後の改正を含みます。)に基づきその後に取り締役および執行役により提出される書類に含まれる予定です。これらの書類は上記の情報源から無料で取得可能です。投資家および株主の皆様は、入手可能となり次第、委任勧誘状・目論見書その他SECに提出される本三角合併に係る関連書類をお読みいただくことにより、当社の取締役および執行役の利害が当社の一般株主の皆様との利害と異なる可能性があることについて、追加情報を取得することができます。

「Acucela」およびアキュセラのロゴは、当社の様々な法域における登録商標または商標です。

会長、社長兼最高経営責任者(CEO) 窪田良 MD, PhD

• 研究者および眼科医としての主な実績

- 眼科臨床医として、網膜疾患や緑内障、白内障など、1,000件以上の手術を執刀
- 緑内障原因遺伝子であるミオシリンを発見、「須田賞」を受賞
- 創薬支援となる細胞培養技術を発見
- 加齢黄斑変性などの網膜疾患を飲み薬で治療するメカニズムを解明、研究開発に着手



• 起業家としての主な実績

- 2002年にアキュセラを設立
- 40百万米ドル強をシリーズA、B、Cで調達
- 知的財産戦略の構築と実行
- 大塚製薬と共同開発・共同販売契約を締結
(最大257.5百万米ドルのマイルストーン支払い)
- 2014年2月、東証マザーズに米国企業で初めての単独上場。
総額163百万米ドルを調達



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
- 112件の特許を取得、174件の特許を出願中
(2015年12月31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
- エミクススタト塩酸塩の欧州、南米、アフリカほぼ全域にお
いて単独商業化権を保有(北米は大塚製薬と共同販売)
- YouHealth／カリフォルニア大学サンディエゴ校とのラノス
テロール技術開発パートナーシップ

財務内容

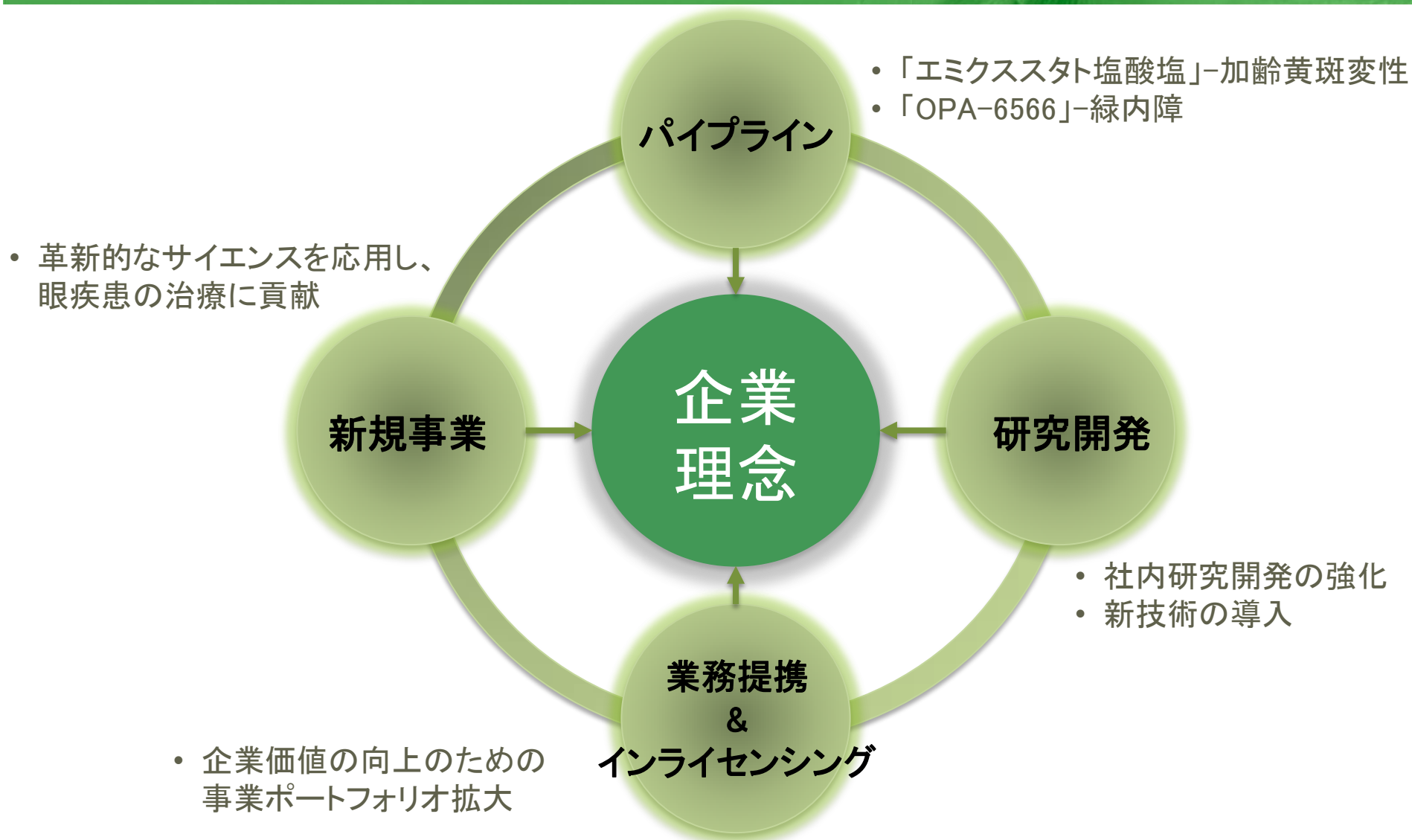
- 2014年2月に東証に上場。総額163百万米ドルを調達
- 2015年12月期で、166百万米ドルの現金および短期・長期
投資有価証券を保有。安定した財務内容

直近のハイライト

日付	ハイライト
2015年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
2015年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
2015年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
2015年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
2015年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
2015年12月7日	窪田博士が「第54回日本網膜硝子体学会総会・第32回日本眼循環学会 合同学会」にて登壇
2015年12月18日	日本における子会社設立のお知らせ
2016年3月17日	ラノステロール技術の開発に関わる独占契約の権利取得のお知らせ
2016年3月29日	三角合併による日本法人の持株会社化、内国株式としての上場申請および付属定款の一部変更のお知らせ

成長戦略

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



当社の取り組み

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 & インライセンシング

「エミクススタト塩酸塩」、その他疾患への応用

- 糖尿病性網膜症またはスターガート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

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

- 白内障に対する非侵襲的な薬物治療、ラノステロール技術の開発

企業体制

日本法人の持株会社化および内国株式としての上場申請

- 潜在的な株式価値の増加
- 日本における認知度および事業プレゼンスを高める機会の増加
- 2016年9月に上場予定

2015年12月期決算概要



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	35,396	24,067	4,269,112	2,902,721	臨床第2b/3相試験が最終段階にあるため「エミクススタト塩酸塩」に関連する請求可能な活動が減少。
費用					
研究開発費	25,582	22,636	3,085,445	2,730,128	
エミクススタト塩酸塩	24,509	21,060	2,956,005	2,540,027	臨床第2b/3相試験が最終段階にあるため「エミクススタト塩酸塩」の臨床試験に関連する活動が減少。
インライセンス	23	1	2,794	139	レバミピド契約の解消および緑内障契約に基づく臨床プログラムが現在検討中であることによる減少。
社内研究	1,050	1,575	126,646	189,962	当社VCM化合物に関連した社内研究開発費の増加。
一般管理費	10,002	27,987	1,206,341	3,375,512	
一般管理費	10,002	14,087	1,206,341	1,699,033	新たな総勘定元帳システム、監査サービスおよび会計およびコプライアンス・サービス導入(約1.0百万米ドル)、社内監査機能およびERMシステムの新規導入(約1.3百万米ドル)、本社施設移転に関連する費用(約0.8百万米ドル)等。
臨時株主総会および経営陣変更の関連費用		13,900		1,676,479	旧経営陣・従業員に対する株式報酬費用(約10.5百万米ドル)および弁護士・コンサルティング等費用(約2.3百万米ドル)新経営陣採用および従業員残留手当等に関わる費用(約1.1百万円)。
営業利益(損益)	(188)	(26,556)	(22,674)	(3,202,919)	
四半期純利益(損失)	(2,006)	(25,509)	(241,942)	(3,076,641)	

(注) 2015年12月30日の為替レートを使用(1米ドル = 120.61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	9,442	(16,871)	1,138,798	(2,034,811)	2015年当期純損失の25.5百万米ドル、提携からの繰延収益が3.8百万米ドル減少したことおよび提携からの未収金が0.9百万米ドル増加したことに起因。(主に株式報酬の8.9百万米ドル、当社新本社施設のリースに関連した繰延賃借料およびリース・インセンティブの1.1百万米ドルの増加ならびに市場性有価証券のプレミアムの償却2.3百万米ドルにより一部相殺)
投資活動によるキャッシュフロー	(152,932)	4,341	(18,445,129)	523,583	主に売却可能市場性有価証券の満期償還によるもので、売却可能市場性有価証券の購入により一部相殺。
財務活動によるキャッシュフロー	148,274	(1,160)	17,883,328	(139,908)	主に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関連。
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	166,525	22,652,848	20,084,594	

(注)2015年12月30日の為替レートを使用(1米ドル = 120.61円)

貸借対照表の概要

(単位:千米ドル、千円)

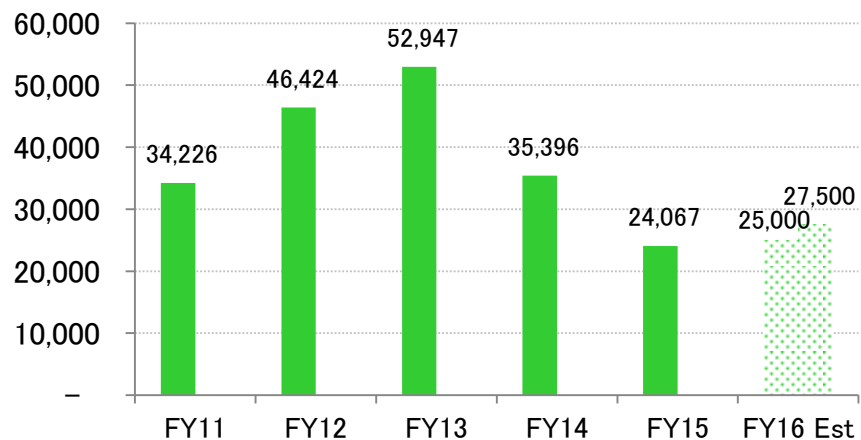
	2014年度	2015年度	2014年度	2015年度	差異の理由
貸借対照表	米ドル	米ドル	日本円	日本円	
流動資産	111,714	120,201	13,473,823	14,497,458	
現金および現金同等物、 短期投資	103,786	112,010	12,517,628	13,509,540	
固定資産	85,252	55,749	10,282,242	6,723,886	
長期投資	84,033	54,515	10,135,220	6,575,054	臨時株主総会および経営陣変更の関連費用による減少
資産合計	196,966	175,950	23,756,065	21,221,344	
流動負債	12,556	8,412	1,514,376	1,014,584	提携からの未払債務の減少
長期負債	47	1,104	5,668	133,154	繰延貸借料およびリース・インセンティブの増加
株主資本	184,363	166,434	22,236,021	20,073,606	

(注)2015年12月30日の為替レートを使用(1米ドル = 120.61円)

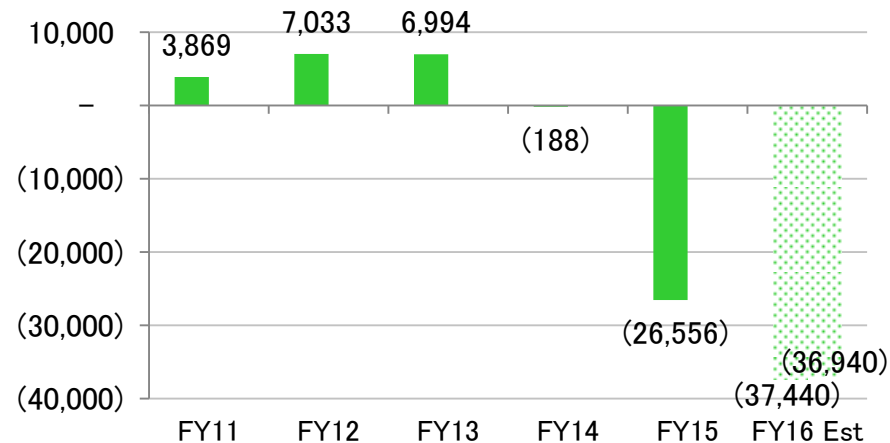
財務概要

(単位:千米ドル)

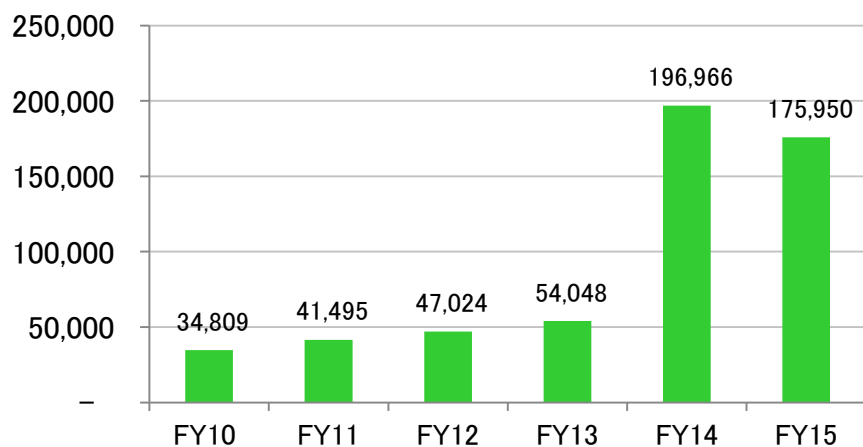
提携からの収益



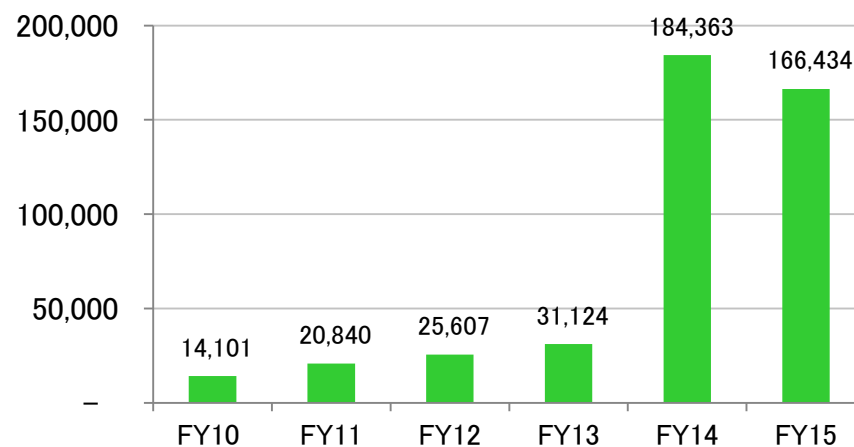
営業利益(損失)



資産合計



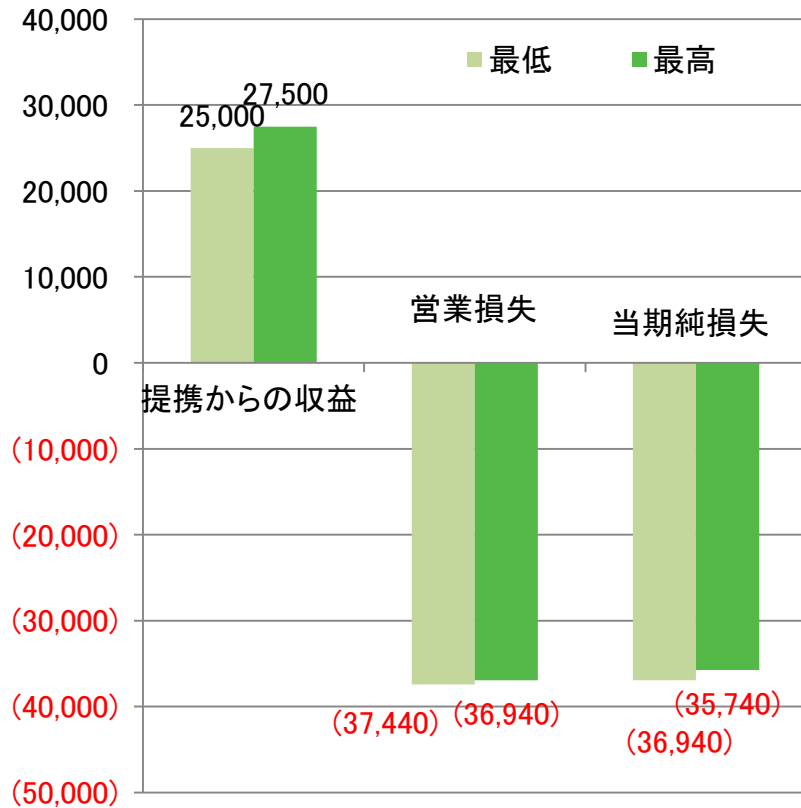
株主資本合計



2016年度12月期連結業績予想

(単位:千米ドル)

2016年度連結業績予想



• 提携からの収益

- 「エミクススタト塩酸塩」の臨床第3相試験に向けた米国における臨床第2b/3相試験の完了に関連し、大塚製薬株式会社から払戻される費用に直接連動して変動。

• 営業損失

- 払戻される可能性のある研究開発費および払戻不可能な社内研究開発費および一般管理費により構成。
- 営業損失の予想値のレンジは、臨床第3相試験に関し払戻される可能性のある費用の幅。
- レンジには影響を及ぼさない払戻不可能な費用には、社内研究開発費(約22.2百万米ドル)および一般管理費(約17.8百万米ドル)を計上。社内研究開発費は、主に事業ポートフォリオを拡大するためのインライセンスなどを含む事業開発費(約15百万米ドル)、糖尿病性網膜症、スターガート病およびその他の前臨床研究を含む研究開発費用(約3.5百万米ドル)を計上。

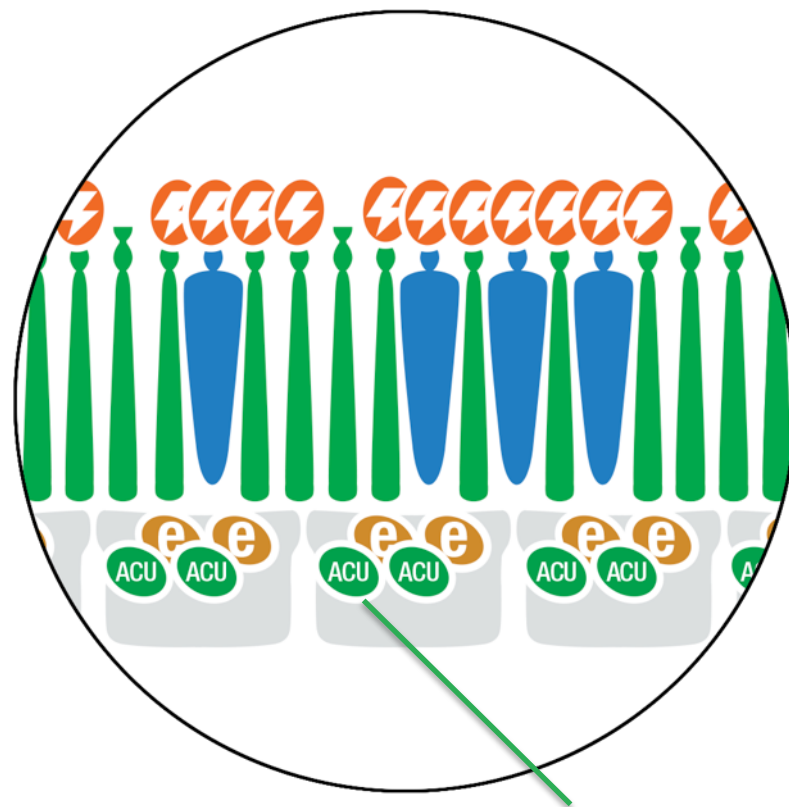
(注)2016年3月9日開示の「2015年12月期決算短信」をご参照下さい。

エミクススタ外塩酸塩



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、網膜内での生物学的効果の測定が可能⁽³⁾



エミクススタ
塩酸塩

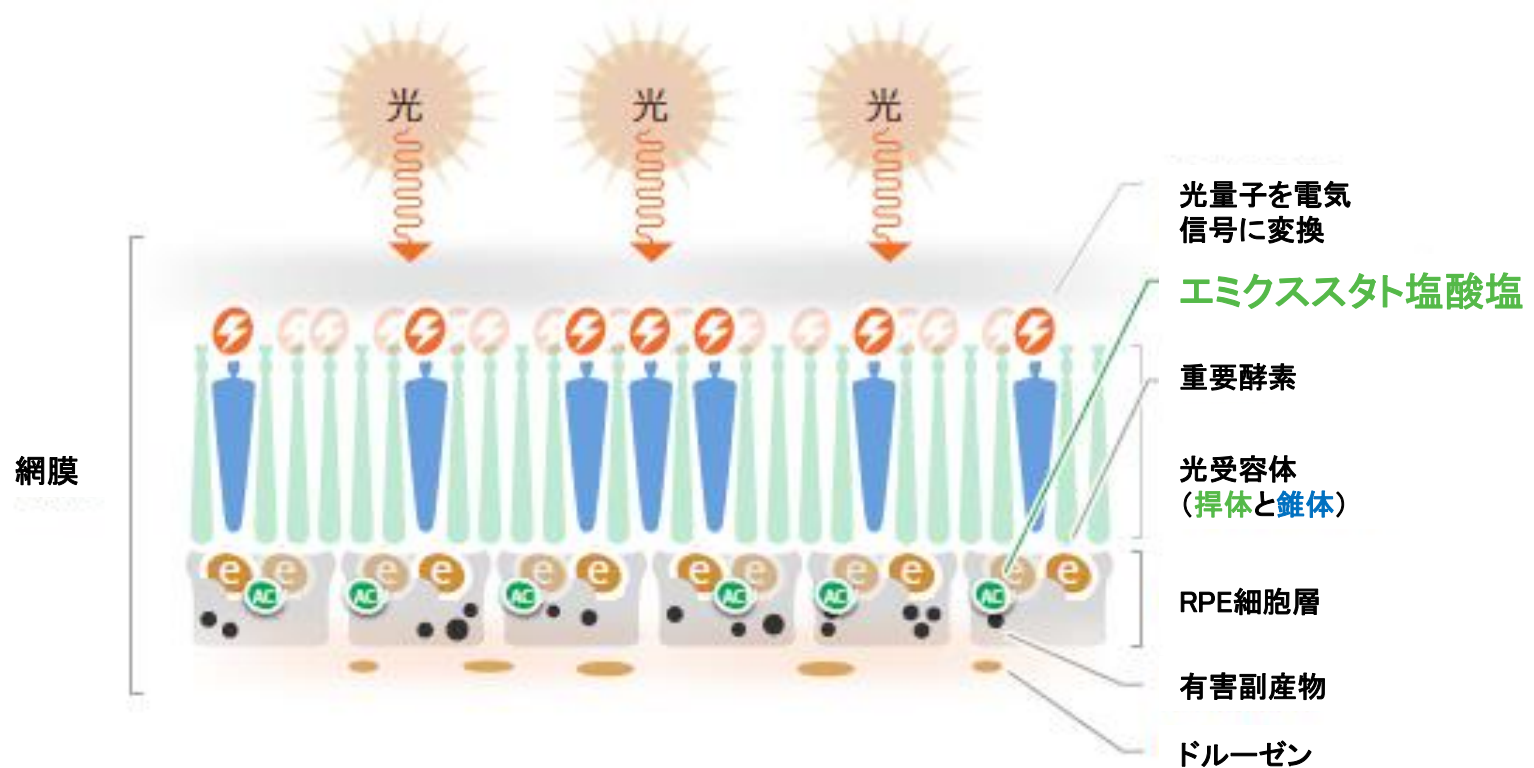
(1) 非レチノイド: 全身に存在しているビタミンA核内受容体であるレチノイン酸受容体には作用せず、レチノイド特有の副作用が無い

(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

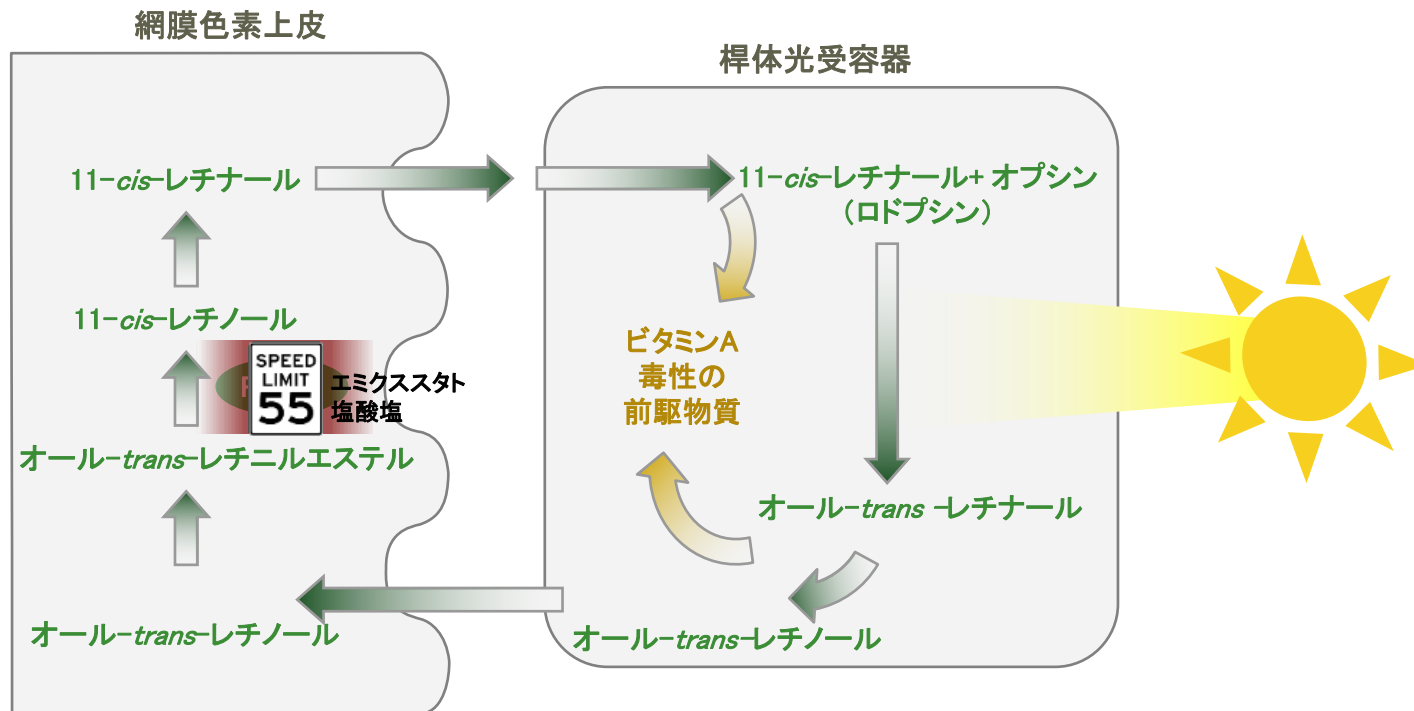
視覚サイクルモジュレーション技術

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。



「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

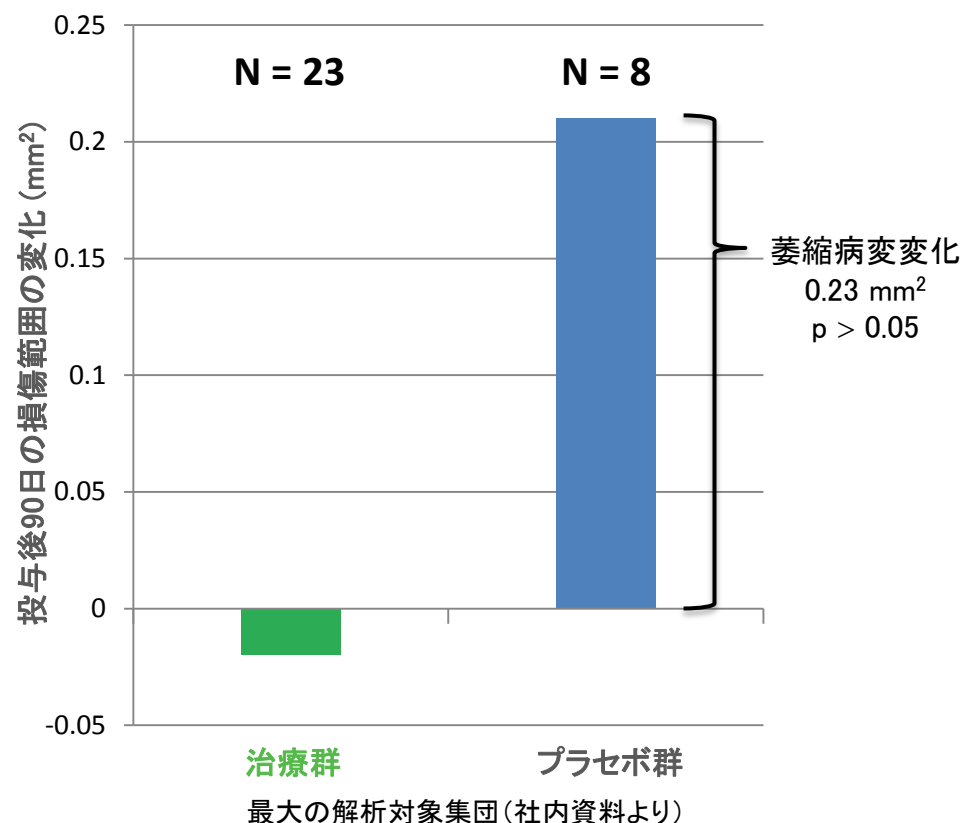
臨床第2a相試験結果 「エミクススタト塩酸塩」投与後90日の萎縮病変分析

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6月を予定

(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。

「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

- › IND申請
- › ヒトでの臨床試験を開始

- › 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

- › 臨床第2b/3相試験被験者登録完了(合計508名)

2005

2007

2008

2009

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

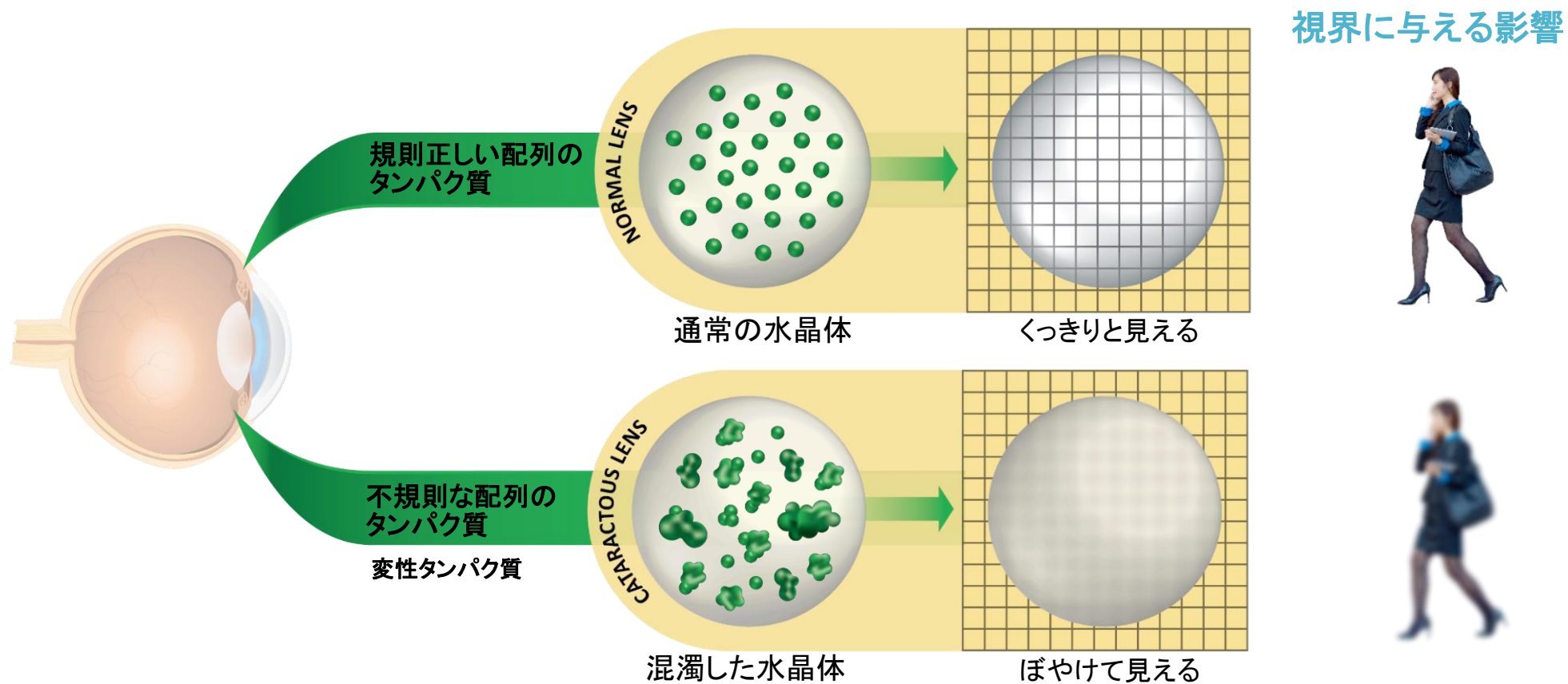
(注)IND (Investigational New Drug)とは新薬臨床試験開始を指します。
(注)GA (Geographic Atrophy)とは地図状萎縮を指します。

ラノステロール

白内障に対する非侵襲的な薬物治療の可能性



水晶体のタンパク質凝集が白内障をまねく

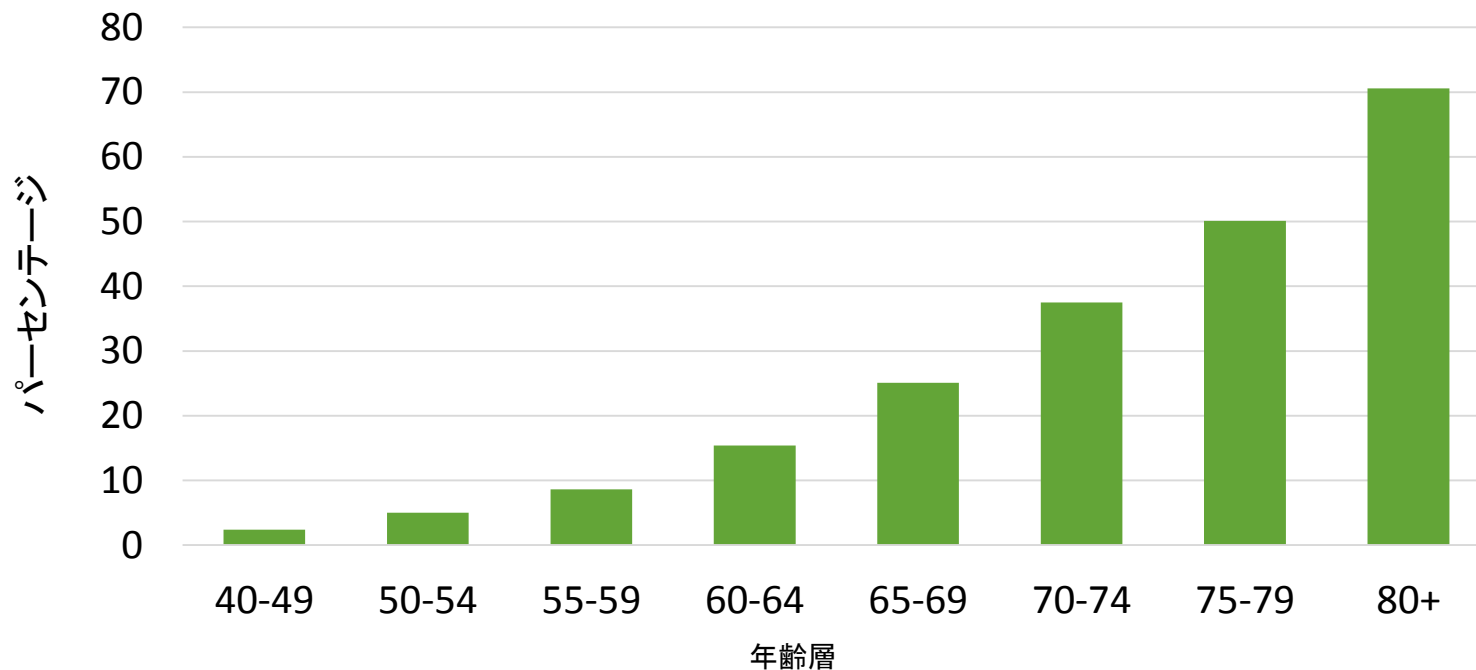


変性したタンパク質の凝集により混濁し、視覚が障害される

出典: Zhao L, Chen XJ, Zhu J, et al. *Nature*. 2015 Jul 30;523(7562):607-11.

加齢に伴い白内障を発症する可能性が高くなる

2015年の年齢層別白内障患者数

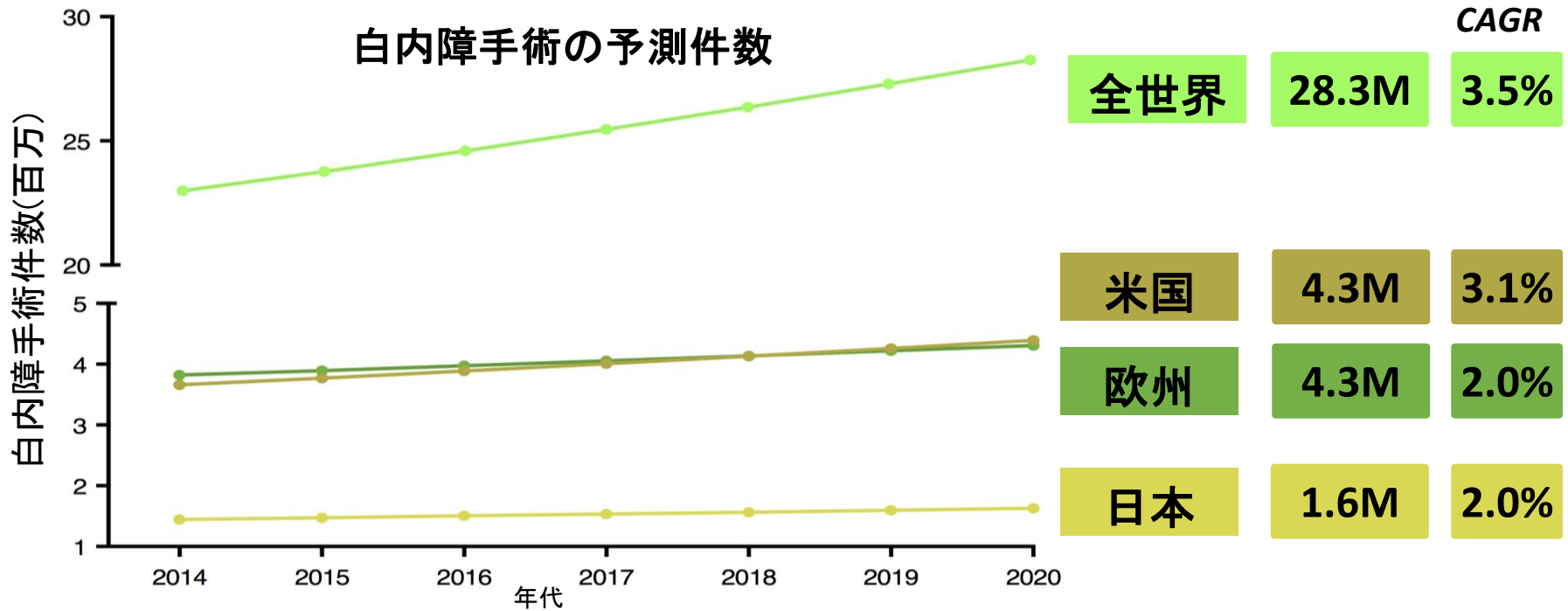


70%の人が
80歳までに
白内障を発
症すると言
われる

2015年のデータによると、白内障は世界で9億人が罹患しており、
2020年には10億人に及ぶことが推定される

出典: Prajna NV, Ravilla TD, Srinivasan S. Cataract Surgery. In: Debas HT, Donkor P, Gawande A, Jamison DT, Kruk ME, Mock CN, editors. Essential Surgery: Disease Control Priorities, Third Edition (Volume 1). Washington (DC): The International Bank for Reconstruction and Development / The World Bank; April 2, 2015. Chapter 11.; Market Scope, Global IOL Market 2015.tar
出典: https://nei.nih.gov/health/cataract/cataract_facts; : https://nei.nih.gov/health/cataract/cataract_facts

今後の白内障手術は増加する見込み



2015年における眼内レンズ市場規模は世界で3,682億円であり、2020年には4,924億円に達すると推定される

2014年における手術用機器市場規模は世界で1,582億円であり、2019年には2,486億円にまで成長する見込み

出典: Market Scope, Global IOL Market 2015; Market Scope, The Global Cataract Surgical Equipment Market, 2015. (1米ドル=113日本円 換算)
略語: CAGR, compound annual growth rate (年複利成長率)

白内障手術は侵襲的 多くの患者様が術後に屈折矯正を必要とする



1
水晶体を摘出するために
角膜を切開する



2
超音波白内障手術装置で
液化して吸い出す
(水晶体乳化)



3
水晶体があった場所に
透明な眼内レンズを挿
入する



4
切開箇所を閉じ、保護
シールドをつけるケースも
ある。
(切開箇所は眼圧により自
然に閉じる。)

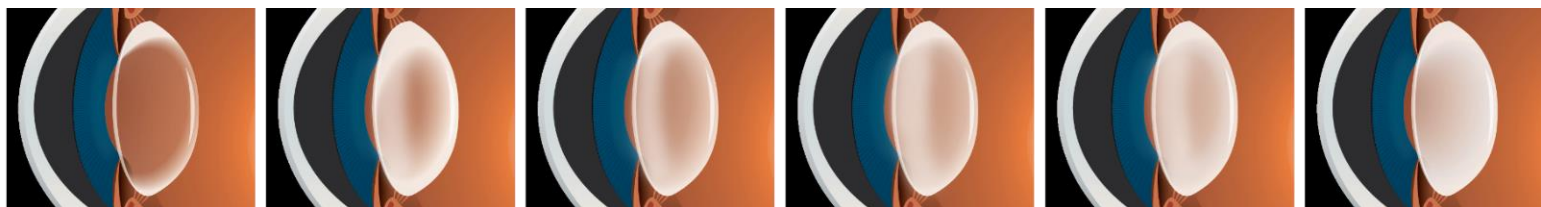
眼内レンズ挿入の手術後、
約40%の患者様が屈折矯正手術を必要とする

出典: Prajna NV, Ravilla TD, Srinivasan S. Cataract Surgery. In: Essential Surgery: Disease Control Priorities, Third Edition (Volume 1). Washington (DC): The International Bank for Reconstruction and Development / The World Bank; April 2, 2015. Chapter 11. <http://www.allaboutvision.com/conditions/cataract-surgery.htm>

軽度白内障は手術適応外

水晶体混濁
分類法 III

分類



1

2

3

4

5

6

正常

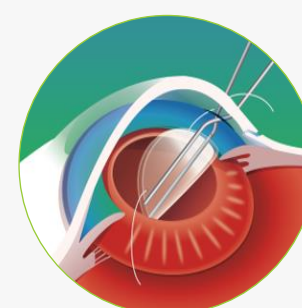
軽度

中度

重度

ピレノキシンが白内障予防に使われているが、治療用ではない。

現在、水晶体の混濁を解消する、もしくは、進行を抑える治療は存在しない。



中度から重度の白内障は手術のみが選択肢

出典: Prajna NV, Ravilla TD, Srinivasan S. *Cataract Surgery*. In: *Essential Surgery: Disease Control Priorities, Third Edition (Volume 1)*. Washington (DC): The International Bank for Reconstruction and Development / The World Bank; 2015 Apr 02. Chapter 11; Optometric Clinical Practice Guideline – Care of the Adult Patient with Cataract. AMERICAN OPTOMETRIC ASSOCIATION, 1995 243 N. Lindbergh Blvd., St. Louis, MO 63141-7881; Chylack LT Jr, Wolfe JK, Singer DM, et al. The Lens Opacities Classification System III. The Longitudinal Study of Cataract Study Group. *Arch Ophthalmol*. 1993 Jun;111(6):831-6.

ラノステロール 白内障に新たな治療法の可能性

ラノステロール:



- 白内障に対する非侵襲的かつ薬理的治療
- ヒトの生体内化合物として存在する
- タンパク質凝集を阻害する
- 水晶体混濁を解消する

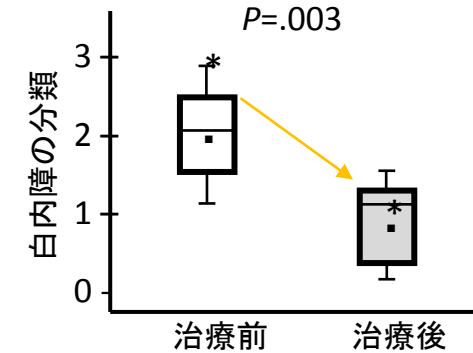
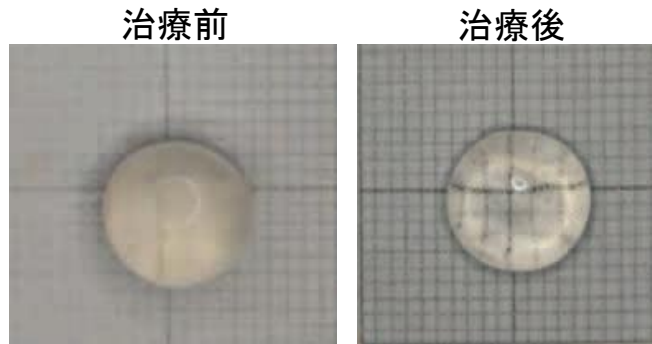
上図の点眼薬の容器ならびにデザインはイメージ画像であり、実際の商品および将来的な治療法を示すものではありません。

前臨床：白内障の症状を軽減

ラノステロールはタンパク質の凝集を阻害し、タンパク質の配列を矯正し、混濁を解消する

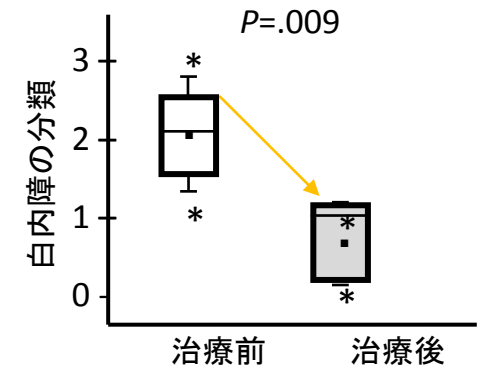
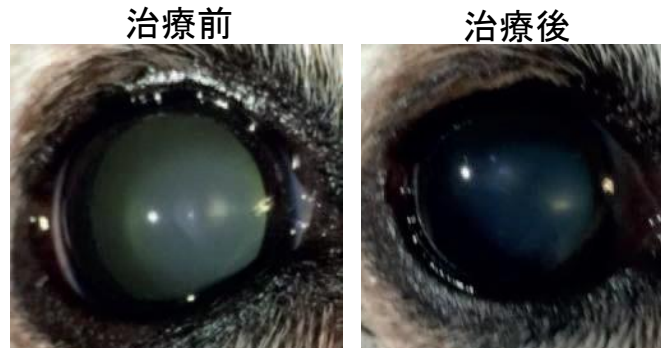
Ex-vivo

ラノステロールによりウサギの水晶体における重度白内障を軽減



In vivo

ラノステロールによりイヌの重度白内障を軽減

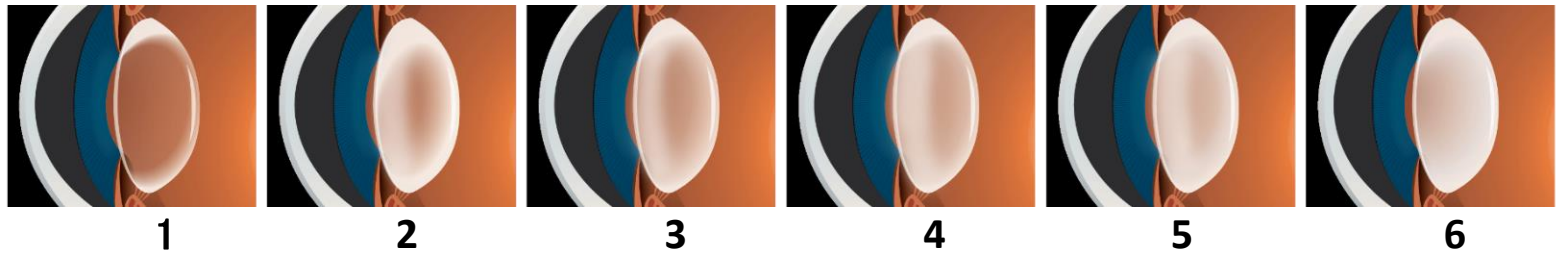


出典: Zhao L, Chen XJ, Zhu J, et al. *Nature*. 2015 Jul 30;523(7562):607-11.

ラノステロール 白内障への革新的治療薬となる可能性

水晶体混濁
分類法 III

分類



ラノステロールは中度から重度の白内障における水晶体混濁を解消する可能性をもつ

上図の点眼薬の容器ならびにデザインはイメージ画像であり、実際の商品および将来的な治療法を示すものではありません。

出典: Prajna NV, Ravilla TD, Srinivasan S. *Cataract Surgery*. In: *Essential Surgery: Disease Control Priorities, Third Edition (Volume 1)*. Washington (DC): The International Bank for Reconstruction and Development / The World Bank; 2015 Apr 02. Chapter 11; Optometric Clinical Practice Guideline – Care of the Adult Patient with Cataract. AMERICAN OPTOMETRIC ASSOCIATION, 1995 243 N. Lindbergh Blvd., St. Louis, MO 63141-7881; Chylack LT Jr, Wolfe JK, Singer DM, et al. The Lens Opacities Classification System III. The Longitudinal Study of Cataract Study Group. *Arch Ophthalmol*. 1993 Jun;111(6):831-6.

ラノステロール技術： 研究開発計画

2016年に前臨床を実施

- 処方開発
- 毒性試験

2017年にプルーフオブコンセプト および臨床第1相試験を実施

- ヒトによる水晶体混濁度の評価

三角合併による日本法人の持株会社化 内国株式としての上場申請



日本法人の持株会社化および内国株式としての 上場申請の利点

- **潜在的な株式価値の増加:**

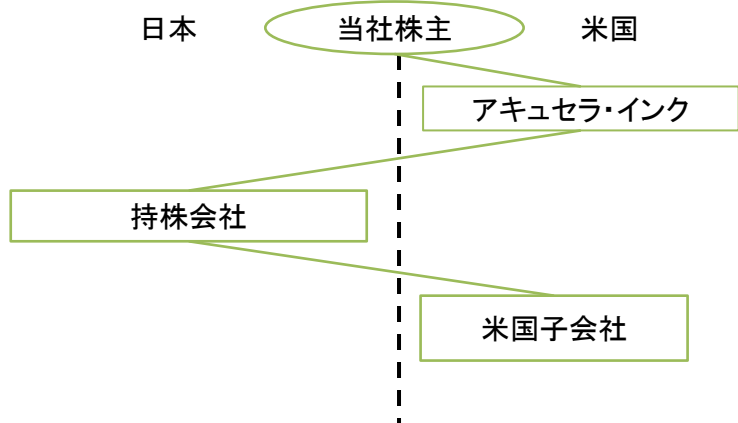
- 日本の投資家にとっての当社に関する情報の利用可能性、量および認知度が向上。会社四季報や日経会社情報において内国会社同様の情報が掲載され、日本の投資家に対するより効率的なコミュニケーションを行うことが可能になる
- 内国会社として、持株会社は東証マザーズ指数の算出対象として追加され得ることになる
- 従来は外国証券への投資ができなかった機関投資家も投資機会を得ることになる
- 本三角合併後に持株会社の上場株式の需要が増加する場合には、機関投資家からの需要が喚起され、アナリストリサーチにおいてカバーされる機会が増加

- **日本における認知度および事業プレゼンスを高める機会の増加:**

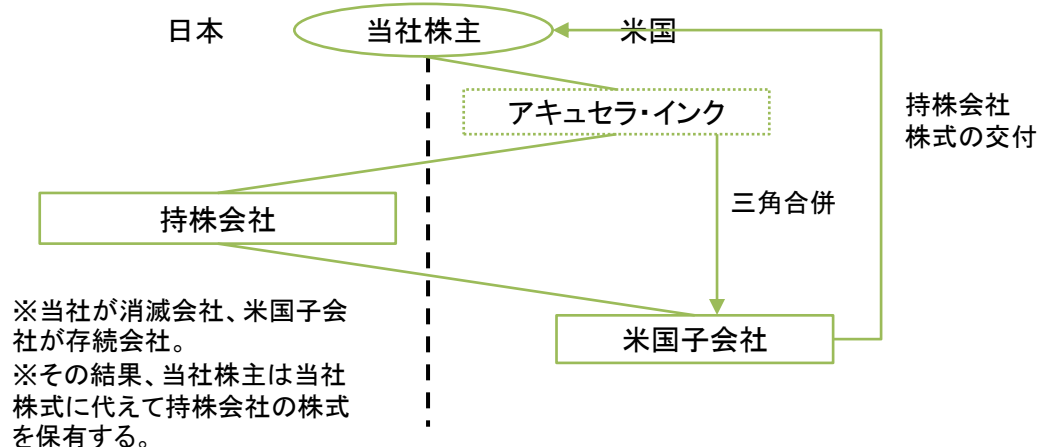
- 日本の製薬会社および学術研究機関との提携を通じた社内調査の実施や、研究開発および薬剤開発におけるパートナーシップの確立等の機会を得られる可能性が増加

日程およびスキーム図

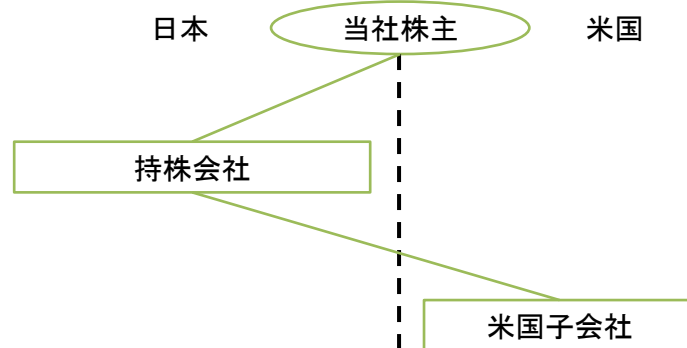
1:現状



2:三角合併



3:三角合併完了後



2016年	項目
3月	取締役会決議
4月	
5月	
6月	三角合併契約締結日(予定)
7月	
8月	定時株主総会開催日(予定)
9月	<ul style="list-style-type: none"> 上場廃止日(アキュセラ・インク)(予定) 三角合併効力発生日(予定) 持株会社上場日(予定)

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



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

付属資料



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ファーマ 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

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 	<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

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「エミクススタ塩酸塩」に関わ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12月31日現在)	「エミクススタ塩酸塩」 に関わる特許		視覚サイクル モジュレーション技術 に関わる特許		その他 特許	合計
	北米	北米外	北米	北米外		
地域						
取得特許	3	15	17	50	27	112
出願特許	2	52	13	106	1	174
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

- 日経産業新聞
米VBの白内障治療薬候補 アキュセラが開発権（2016年3月18日掲載）
- 朝日新聞
経済面連載「けいざい深話」（2016年2月17日～20日掲載）
- 日経ビジネス
眼科医であり当社会長、社長兼最高経営責任者の窪田良が「次代を創る100人」に選出（2015年12月28日・2016年1月4日号）
- 週刊エコノミスト
問答有用 失明防ぐ新薬開発に挑む（2015年12月15日号掲載）
- 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）
- 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）
- 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）
- 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）

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



アキュセラは、臨床開発段階の眼科医療ソリューション・カンパニーです。失明や著しい視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索および開発に取り組んでいます。

