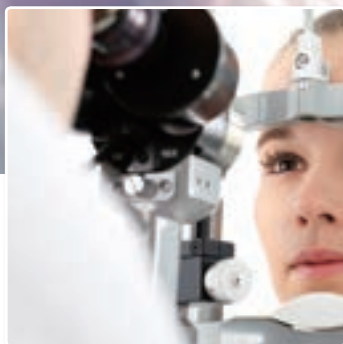



株主通信

2016年1月1日



2016年12月31日



 窪田製薬ホールディングス株式会社

証券コード：4596

トピックス

積極的な技術導入と自社研究開発を強化することにより、革新的な眼科製品ポートフォリオの充実を目指す

窪田製薬ホールディングスは、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ことを目的に、イノベーションをさまざまな医薬品・医療機器の開発および実用化に繋げてまいります。

2016年3月17日

YouHealth社より、白内障治療薬候補、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

2016年4月5日

マンチェスター大学より、オプोजェネティクスによる網膜色素変性の遺伝子療法に関する独占契約を取得

2016年6月14日

大塚製薬株式会社とのエミクス スタート塩酸塩契約およびOPA-6566契約の終了

2016年
4月

5月

6月

7月

8月

9月

2016年5月26日

ドライ型加齢黄斑変性治療薬候補エミクススタート塩酸塩の臨床第2b/3相試験におけるトプラインデータについて：SEATTLE試験の主要評価項目において地図状萎縮病変の進行抑制に有意差が認められず

2016年12月1日

三角合併により窪田製薬ホールディングス発足

2016年12月6日

窪田製薬ホールディングス東京証券取引所マザーズ市場への上場

2016年12月14日

EyeMedics社との新規バイオミメティック技術における全世界製造・開発・販売の独占的实施権取得に関するオプション契約締結

2017年1月5日

エミクススタト塩酸塩のスターガルト病治療に対するFDAオーファンドラッグ認定

10月

11月

12月

2017年1月

2月

3月

2017年
4月

2016年12月26日

SBIホールディングス株式会社と合弁会社設立に関して基本合意書を締結

2017年1月27日

スターガルト病治療薬候補エミクススタト塩酸塩の臨床第2a相試験開始

2017年2月13日

Patient Based Ophthalmology Suite (PBOS) に関わる在宅眼科医療機器ソリューション開発開始

トップインタビュー



代表執行役会長、
社長兼最高経営責任者
(MD、PhD)

窪田 良

より多角化したパイプラインで成長・拡大を目指す

当社は、創業以来、世界から失明を撲滅することを目標に掲げており、これからも引き続き眼科領域に特化したパイプラインを拡充させていきます。眼科医療の市場は、高齢化社会に伴い今後も大きく拡大していきます。また、未だ治療法のないアンメット・メディカルニーズも眼疾患には多く、当社は、こうした領域にソリューションを提供できるよう研究開発を進めております。

現在の戦略といたしまして、探索研究段階の有望な技術を獲得し、非臨床試験を経て、ヒトでのPOC(概念の実証、Proof of Concept)を取得する段階で、共同開発パー

トナーとの提携を目指します。自社の創薬技術を活かし、非臨床試験から臨床試験へと研究開発を進めてヒトでのPOCを取得する「トランスレーショナル研究」に注力することにより、投資のコストを抑えながらも収益性の高いパイプラインを充実させていきたいと考えています。

有望な技術を早い段階で見極める経験豊かな研究開発陣に加え、眼科領域に卓越した経営体制により、他社に先駆けて革新的技術を発掘し、事業成長に結びつけてまいります。

エミクススタト(スターガルト病、糖尿病網膜症の治療薬候補)の進捗について教えてください

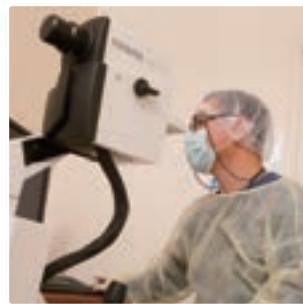
眼球の奥にある網膜には、脳に映像を認識させるために光を電気信号に変える「視覚サイクル」と呼ばれる仕組みがあります。この視覚サイクルは、明るい光や強い光に曝露されると有害代謝産物を生成します。これが長期にわたり消化されないまま蓄積されると、網膜が損傷され、視力低下あるいは失明に至ると考えられています。

(スターガルト病)

エミクススタトは、網膜内の酵素に特異的に作用し有害代謝産物を抑制すると考えられています。この作用に着目し、スターガルト病治療薬候補として開発を進めています。当社が実施した非臨床試験では、エミクススタトは代謝産物(A2E)の産生と蓄積を軽減することが顕著に示されました。米国FDAより、2017年1月にエミクススタトがスターガルト病治療のためのオーファンドラッグに認定され、現在、臨床第2a相試験を実施しております。

(糖尿病網膜症)

エミクススタトは、視覚サイクルを調節することで網膜の代謝が軽減され、網膜の酸素需要を減少させることが可能になると考えられています。非臨床試験では、エミクススタトは暗い環境の中で酸素消費量を軽減させる効果があることが示唆されました。この作用に着目し、糖尿病網膜症の治療薬候補として開発を進めています。現在、重度である増殖糖尿病網膜症患者を対象に臨床第2相試験を実施しております。



ラノステロール(白内障治療薬候補)の進捗について教えてください

白内障は、眼球内の水晶体を構成するタンパク質が凝集することにより生じます。ラノステロールは、この混濁を解消することが、動物試験において確認されています。現在、重度の白内障の患者さんには、人工の眼内レンズを移植するという選択肢がありますが、短時間で行える手術とはいえ、侵襲的であることには変わりありません。そのため、白内障の初期においては水晶体の透明度と混濁に伴う視力低下を改善し、混濁が進行した重度の患者さんに対しては水晶体の混濁を解消し視力を改善できるような、侵襲性の低い薬物治療が可能になれば、眼科医療における飛躍的な進歩になるものと考えております。2017年から2018年に、白内障の患者さんを対象に臨床第1/2相試験を開始し、2018年度中にはPOCを取得したいと考えております。また、老視(老眼)への治療薬としても、研究開発を検討しております。

オプトジェネティクス(網膜色素変性治療に関わる遺伝子療法)の進捗について教えてください

オプトジェネティクス(遺伝子療法)は、網膜にある光感度を持たない細胞に光感受性を持たせる治療法です。細胞の電気信号を活用するもので、これまでも眼科以外の分野でも様々な研究が行われてきました。当社におけるオプトジェネティクスに基づく研究は、様々な遺伝子変異に起因する網膜色素変性やそれに関連する症状に対して行う予定で、遺伝子変異の種類に依存しない治療法として開発を進めています。この技術によって、視覚機能をほとんど失っている重篤な網膜色素変性の患者さんの視力が回復する可能性があると考えています。2018年から2019年に臨床第2相試験を開始し、2019年のPOC取得を目指します。

ACU-6151の進捗について教えてください

ACU-6151は、バイオミメティックス(生物模倣技術)に基づく加齢黄斑変性や糖尿病黄斑浮腫のような血管新生を伴う網膜疾患に対する新薬候補となる化合物です。ACU-6151は、全く新しいメカニズムで炎症の原因を調節することが期待される低分子化合物で、現在の標準的な治療薬として投与されている抗VEGF製剤よりも投与回数を削減し、より長期間にわたり治療効果を持続する可能性を検証しております。2020年のPOC取得を目指し、2018年に非臨床試験を開始するべく準備を進めております。

株主の皆様へ

研究者、臨床医の時代からの、治療法のない眼の病気に苦しむ患者さんに対し世の中になかった革新的な治療法を確立したいという想いのもと会社を設立しました。この理念を基に、今後も社員一同研究開発を進め、会社の成長に繋げてまいります。

昨年末に国内に本社機能を移転し、事業基盤を日米に設ける運びとなりました。株主の皆様のご支援のもと、社員一同より一層、身を引き締めてまいります。今後とも、引き続き当社の事業へのご理解とご関心を賜りたく、宜しくお願い申し上げます。



眼科医薬品開発とのシナジーを創出し、 革新的ソリューションを目指す医療デバイス開発

PBOS (Patient Based Ophthalmology Suite)

PBOSは、モバイルヘルスを含む在宅・遠隔医療分野での需要を見込んだ自社技術をもとに開発する在宅眼科医療機器ソリューションです。PBOSは、1)患者自身で検査を行うための超小型OCT*機能を含む小型ハンドヘルドデバイス、2)クラウドにデータをアップロードするためのネットワーク機能、3)検査結果を解析するソフトウェア、そして4)医師および医療機関が解析されたデータにアクセスするクラウドサービスで構成される予定です。

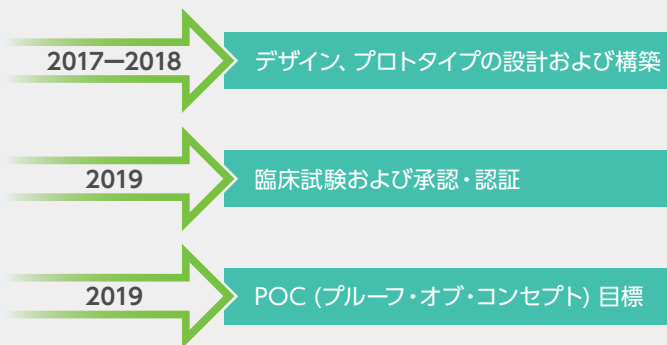
開発の第一段階として、ウェット型加齢黄斑変性や糖尿病黄斑浮腫をはじめとする、網膜血管新生による眼疾患の治療中および治療後の病変と経過のモニタリングを提供する予定です。網膜の構造や視力の変化といった病状の経過を、医師が遠隔で診断できるシステムを確立することにより、個別の患者に適した眼科治療を実現し、視力の維持向上を目指します。

開発スケジュール

2017年から2018年にかけて、デザイン、プロトタイプ的设计および構築、2019年に臨床試験および承認・認証、POC取得を目標にしております。

在宅医療、遠隔医療のニーズの増加と眼科医療の未来を見据え、新薬の研究開発とのシナジーを創出し、かつ、標準治療の課題を解決する眼科医療ソリューションへのステップとして医療デバイスの開発を発展させてまいります。

PBOS: 超小型OCTハンドヘルドデバイス開発



* OCT (Optical Coherence Tomography)は光干渉断層計であり、網膜の断面の構造を見ることができる装置のことです。

開発パイプライン

新薬は候補物質探索にはじまり、さまざまな研究や試験を行い、長い研究開発期間をかけようやく患者さんのもとに届けられます。窪田製薬ホールディングスは、新薬や医療デバイスの開発に日々邁進しております。

開発パイプラインの状況

開発品	適応症	非臨床	第1相	第2相	第3相	POC取得目標 ^{*1}	導入元
VCM ^{*2} エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症 ^{*3}	■	■	■		2017年	自社
	スターガルト病 ^{*4}	■	■	■		2018年	自社
	中期加齢黄斑変性	■				2019年	自社
ラノステロール	白内障、老視(老眼)	■				2018年	カリフォルニア大学 サンディエゴ校
オプトジェネティクス (遺伝子療法)	網膜色素変性	■				2019年	マンチェスター大学
ACU-6151 (バイオメテック技術)	糖尿病黄斑浮腫、加齢黄斑変性(ウェット型、地図状萎縮を伴うドライ型)	■				2020年	南カリフォルニア大学
PBOS (Patient Based Ophthalmology Suite)	ウェット型加齢黄斑変性、糖尿病黄斑浮腫、網膜血管新生による眼疾患	■				2019年	自社

*1 POC (プルーフ・オブ・コンセプト)：開発概念の実証。ヒトを対象に新薬候補の安全性や有効性を探索し確認することを指し、創薬の研究開発のマイルストーンのひとつ。スターガルト病に関しては、薬理作用の検証結果。

*2 VCM (視覚サイクルモジュレーター)：視覚サイクルの速度を抑制し、調節します。(視覚サイクルとは、網膜内において生物学的に光量子を電子信号に変換し続けるために必要な仕組み)

*3 臨床第2相試験：20名の被験者に、米国の最大6施設において、エミクススタト (5mgから40mgまでの漸増試験) あるいはプラセボを1日1回12週間にわたり経口投与。

*4 臨床第2a相試験：30名の被験者に、米国の最大6施設において、エミクススタトを1日1回1ヶ月間にわたり (2.5 mg、5 mg、10 mgの投与群に割り当て) 経口投与。

新薬ができるまでのプロセス

基礎研究

数多くの新規化合物の中から、新薬候補となりそうなものを選別します。



非臨床試験

動物を対象として、新薬の候補化合物の有効性と安全性、毒性などを調べます。



臨床試験

ヒトを対象として、新薬候補化合物の有効性と安全性を試験します。この試験は「治験」といい3段階に分かれています。

第1相試験

被験薬が最初にヒトへ投与される試験。

第2相試験

疾患または症状を有する患者を対象として実施されるコントロール試験。主に被験薬の有効性および短期的副作用、被験薬のリスクを評価します。

第3相試験

大規模臨床試験。コントロール試験と非コントロール試験で、被験薬のリスク・ベネフィットの総合評価に必要な有効性および安全性に関する追加データと、添付文書の記載に必要な情報を入手します。

申請承認審査

臨床試験で得られた結果を解析し、米国食品医薬品局 (FDA) や厚生労働省等へ申請します。承認が下りると薬として認められたこととなります。

製造販売



市販後調査

市販後、多くの患者に処方されたときの安全性や有効性を確認します。



マネジメント

(2017年2月28日現在)

経営陣



窪田 良

MD、PhD

窪田製薬ホールディングス株式会社
代表執行役会長、社長兼最高
経営責任者 (CEO)
アキュセラ・インク[※]
会長、社長兼最高経営責任者
(CEO)



ジョン・ゲブハート

MBA

窪田製薬ホールディングス株
式会社
最高財務責任者 (CFO)
アキュセラ・インク[※]
最高財務責任者 (CFO)



テッド・ダンス

MBA

アキュセラ・インク[※]
最高事業責任者 (CBO)



ルーカス・シャイブラー

PhD

アキュセラ・インク[※]
研究開発担当上級副社長

※ アキュセラ・インクは当社の完全子会社です。

取締役



窪田 良

MD、PhD

窪田製薬ホールディングス株
式会社
代表執行役会長、社長兼最高
経営責任者 (CEO)
アキュセラ・インク
会長、社長兼最高経営責任者
(CEO)



浅子 信太郎

株式会社ディー・エヌ・エー
執行役員
経営企画本部長



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



中村 栄作

一般社団法人こいのぼり
監事



ロバート・タケウチ

RTコンサルティング・インク
社長

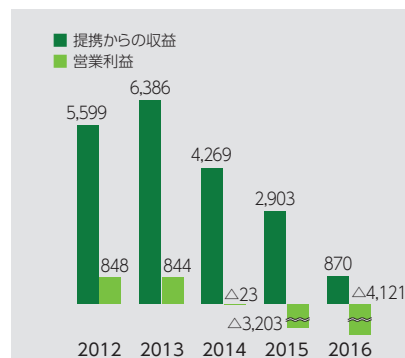
財務ハイライト

	12月31日終了年度				
	2012年度	2013年度	2014年度	2015年度	2016年度
	(単位:百万円)				
提携からの収益	5,599	6,386	4,269	2,903	870
税引前当期純利益(△損失)	823	866	43	△3,071	△3,953
当社株主に帰属する 当期純利益(△損失)	504	519	△242	△3,077	△3,953
1株当たり当社株主に帰属する 当期純利益(△損失)	11	12	△7	△86	△106
総資産額	5,672	6,519	23,756	21,221	17,169
株主資本	3,088	3,754	22,236	20,074	16,520

※ 2012年度から2015年度はアキュセラ・インクの財務データです。
2012年度から2015年度までの「円」で表示されている金額は、1米ドル=120.61円(2015年12月30日現在)で換算された金額です。

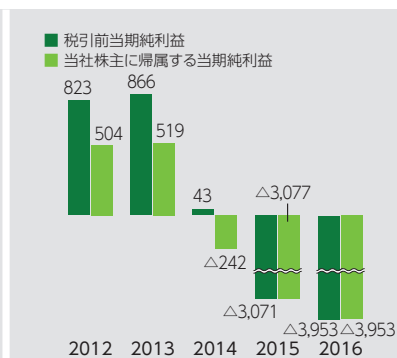
提携からの収益／営業利益

(単位:百万円)



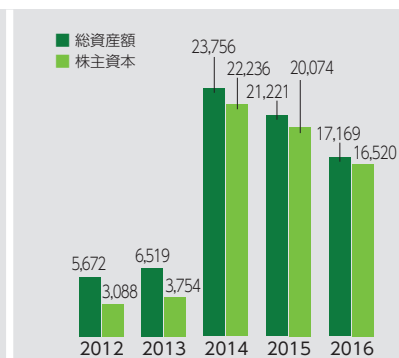
税引前当期純利益／当期純利益

(単位:百万円)



総資産額／株主資本

(単位:百万円)



※ 財務データは該当する事業年度の当社監査済財務諸表からの抜粋です。2012年度から2015年度はアキュセラ・インクの財務データです。

企業情報および株主情報

名 称	窪田製薬ホールディングス株式会社
英 文 名 称	Kubota Pharmaceutical Holdings Co., Ltd.
設 立	2015年12月
所 在 地	東京都渋谷区恵比寿四丁目20番3号 恵比寿ガーデンプレイスタワー18F
電 話 番 号	03-5789-5872 (代表)
執 行 役 (2017年2月28日現在)	窪田 良 MD、PhD 代表執行役会長、社長兼最高経営責任者 (CEO) ジョン・ゲブハート MBA 最高財務責任者 (CFO)
取 締 役 (2017年2月28日現在)	窪田 良 MD、PhD 浅子 信太郎 三田 四郎 PhD 中村 栄作 ロバート・タケウチ

発行済株式総数 37,911,040株(2017年2月28日現在)

株 主 数 12,962名(2017年2月28日現在)

大株主の状況 (2017年2月28日現在)

株主名	所有株式数	持株比率
窪田 良	10,250千株	27.03%
SBIインキュベーション株式会社	8,289千株	21.86%
SBIホールディングス株式会社	6,196千株	16.34%
大塚製薬株式会社	1,888千株	4.98%
株式会社大塚製薬工場	1,515千株	3.99%
日本証券金融株式会社	287千株	0.75%
株式会社東京ウエルズ	278千株	0.73%
信越化学工業株式会社	222千株	0.58%
DNP Holding USA Corporation	222千株	0.58%
Morgan Stanley Smith Barney LLC Clients Fully Paid SEG Account	124千株	0.32%

※ SBIグループ会社により保有または支配される株式およびSBIグループ会社により管理される投資ファンドが考慮される場合、SBIグループ会社の保有割合の総計は38.23%となります。

株主メモ

- 証券コード
東証マザーズ4596
- 決算期
12月31日
- 定時株主総会議決権行使株主確定日
2月末
- 売買単位
100株
- 株式事務取扱機関
三菱UFJ信託銀行株式会社
東京都千代田区丸の内一丁目4番5号
- 事務取扱場所
三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部
東京都江東区東砂七丁目10番11号
- 株主名簿管理人・特別口座管理機関
三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部
連絡先：東京都江東区東砂七丁目10番11号
電話 0120-232-711 (フリーダイヤル)

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。