



2019年11月18日

各位

会社名 窪田製薬ホールディングス株式会社  
代表者名 代表執行役会長、社長兼最高経営責任者  
窪田 良  
コード番号 4596 東証マザーズ  
問合せ先 執行役最高財務責任者 前川 裕貴  
(TEL : 03-6550-8928 (代表) )

### 製品開発等の事業状況(2019年12月期第3四半期)

2019年12月期第3四半期決算短信を公表いたしましたが、補足として主要な開発パイプラインの進捗状況をお知らせいたします。



#### 1. エミクススタト塩酸塩

・当社は、欧州・米国で「エミクススタト塩酸塩」のスターガルト病治療に対するオーファンドラッグ指定を受けています。オーファンドラッグとは希少疾病用医薬品と呼ばれ、治療が困難な病気や患者数が少ない病気に対する治療薬のことをいいます。スターガルト病は、8千～1万人に1人が罹患すると推定されており、米国における推定患者数は4万人以下、日本では難病に指定されている疾患です。現在、スターガルト病に対し、症状の進行を抑制する治療法は存在しておらず、アンメット・メディカル・ニーズとして対応が急がれています。当社は本邦においてもオーファンドラッグの指定取得の準備を進めています。指定された場合、開発促進を図るためにスポンサー（開発）企業は以下のインセンティブ（メリット）を享受することができます。

- ① 10年間の市場独占期間
- ② 製造販売承認申請費用の減額



③ 当局による助言・指導、相談料の減額

④ 優先承認審査

スターガルト病治療薬候補は臨床第3相試験を進めています。本試験は2018年11月7日（米国時間）に最初の被験者登録が実施され、現在世界で11か国、30施設で実施しており、合計で約160名の被験者登録を見込んでいます。現在も被験者登録を進めています。スターガルト病は希少疾患のため、臨床試験の被験者登録タイミングの想定が難しいこと、一般的に国や地域によっては認可までに複数の大規模臨床試験が必要となる場合もあるため、被験者登録及び、臨床第3相試験の具体的な終了時期、上市時期を現時点でお伝えするのは難しい状況です。希少疾患患者の多くは通常大規模臨床試験に参加するような市中の大病院ではなく、臨床試験をすることに慣れていない研究機関や大学に通院しており、大学や研究機関との臨床試験契約の事務手続きに想定以上の時間を要していますが、現在治療法が全く存在しないアンメットメディカルニーズであるため、引き続き患者様、眼科医からの強い期待をいただいています。

・増殖糖尿病網膜症治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」は、臨床第2相試験において、網膜症の発症や悪化に関連するバイオマーカーである VEGF(血管内皮増殖因子)濃度の軽度改善が認められました。これらのデータ解析結果に基づき、今後の開発戦略を検討しておりますが、臨床第3相試験を開始する前に、更に小規模試験を実施する可能性もあります。なお、糖尿病網膜症の大規模臨床試験を当社だけで実施することは現段階では困難であると考えており、現在詳細なデータ解析をし論文発表の準備をしつつ、パートナー企業との共同開発の可能性を模索しています。客観的な専門家のレビュー、ピアレビューを経た論文を発表することにより、補助金の獲得やパートナー企業との提携の確率を上げていきたいと考えています。

## 2. ヒトロドプシン

・網膜色素変性症の治療を目的として、前臨床試験を行なっています。網膜色素変性症は、幼少期に発症し、40歳頃までに失明する例も多く見られる遺伝性の網膜変性疾患です。約4,000人に1人が罹患する希少疾病であり、世界で150万人が患っていると推定されています。当社は、「第二世代のオプトジェネティクス技術」とも呼ばれるヒトロドプシンを用いて開発をしています。ヒトロドプシンはヒトの視細胞の桿体に存在し、光を受容すると分子構造が変化してG蛋白シグナル伝達系を活性化する光受容蛋白質です。網膜色素変性症はその桿体が障害される疾患です。当社のオプトジェネティクスプロジェクトの目的は、ヒトロドプシンの遺伝子を、障害を受けていない二次神経細胞であるオン型双極細胞に導入し、その細胞のG蛋白シグナル細胞内伝達系を活性化することで双極細胞を視細胞のように働かせる、即ち正常の網膜と同じような高い光感度を網膜色素変性症の患者様に再獲得していただくことにあります。また導入遺伝子はバクテリア由来ではなく、元々ヒトの持つ蛋白質を発現させるため、異物に対する免疫応答、炎症を回避できるとも考えられます。第二世代のオプトジェネティクス技術にも難しい課題はありますが、現在、グローバルな共同研究チームで課題克服に臨み、一刻も早く、患者様に第二世代のオプトジェネティクス遺伝子治療をお届けできるように努力しています。2019年8月、2019年11月には、当社の代表執行役会長、社長兼最高経営責任者の窪田良博士が遺伝子導入の最適化を図るため、霊長類を対象にした硝子体手術をドイツにて執刀しました。





### 3. 在宅・遠隔医療モニタリング機器

・小型モバイルOCT(「PBOS (Patient Based Ophthalmology Suite) 」)は、AI診断で在宅で網膜の状態測定することを可能にする遠隔眼科医療モニタリングデバイスとして開発を進めています。2018年に米国で実施した臨床試験において良好な結果が得られたことから、量産モデルの開発を進めました。今後の商業化に向けて米国における510(k)申請の準備を進めています。なお、FDA510(k)でFDAに承認されれば上市は可能ですが、米国において保険収載されるためには、別途臨床試験を行う必要があります。



・宇宙飛行士モニタリング機器は、アメリカ航空宇宙局 National Aeronautics and Space Administration (米国、以下 NASA) と共同開発を進めています。視神経乳頭の形態学的解析を目指しており、開発が成功した暁には、NASA 向けの製品での活用だけではなく、当社において緑内障等の視神経乳頭に影響のある疾患の診断ビジネスに活用できるものと考えています。2020年初頭にはNASA に対してプロトタイプによるデモを実施予定です。結果が良好であれば、NASA より資金提供を受けフェーズ2に移行します。NASA からの開発委託金の会計上の取り扱いにつきましては、売上に計上できるものと考えています。

#### 窪田製薬ホールディングス株式会社について

当社は、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・医療機器の開発及び実用化に繋げる眼科医療ソリューション・カンパニーです。当社100%子会社のアキュセラ・インク(米国)が研究開発の拠点となり、革新的な治療薬・医療技術の探索及び開発に取り組んでいます。当社独自の視覚サイクルモジュレーション技術に基づく「エミクススタト塩酸塩」において糖尿病網膜症およびスターガルト病への適応を目指し研究を進めています。また、白内障や老視(老眼)の薬物治療を目的とした低分子化合物の研究開発、そして網膜色素変性における視機能再生を目指す遺伝子療法の実施を行っています。同時に、糖尿病黄斑浮腫、ウェット型加齢黄斑変性など血管新生を伴う疾患の治療を目指し、生物模倣技術を用いた低分子化合物の研究開発も進めています。在宅・遠隔医療分野(モバイルヘルス)では、PBOSなどクラウドを使った医療モニタリングデバイスの研究開発も手掛けています。(ホームページアドレス：<http://www.kubotaholdings.co.jp>)

#### 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。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。