



平成28年12月期 決算短信〔米国基準〕（連結）

平成29年2月14日

上場会社名 窪田製薬ホールディングス株式会社 上場取引所 東
 コード番号 4596 URL <http://www.kubotaholdings.co.jp/>
 代表者 (役職名)代表執行役会長、社長兼最高経営責任者 (氏名)窪田 良
 問合せ先責任者 (役職名)ファイナンスディレクター (氏名)石川 康男 (TEL)03(5789)5872
 定時株主総会開催予定日 平成29年5月25日 配当支払開始予定日 —
 有価証券報告書提出予定日 平成29年3月15日
 決算補足説明資料作成の有無 : 有・無
 決算説明会開催の有無 : 有・無 (機関投資家・アナリスト向け)

(百万円未満四捨五入)

1. 平成28年12月期の連結業績（平成28年1月1日～平成28年12月31日）

(1) 連結経営成績

(%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		税引前当期純利益		当社株主に帰属する当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
28年12月期	870	—	△4,121	—	△3,953	—	△3,953	—
27年12月期	—	—	—	—	—	—	—	—

(注) 1. 包括利益 28年12月期 △3,601百万円(—%) 27年12月期 —百万円(—%)

2. 連結損益計算書において提携からの収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

	1株当たり当社株主に帰属する当期純利益	潜在株式調整後1株当たり当社株主に帰属する当期純利益	株主資本当社株主に帰属する当期純利益率	総資産税引前当期純利益率	売上高営業利益率
28年12月期	円 銭 △105 64	円 銭 △105 64	% △23.9	% △23.0	% △473.6
27年12月期	—	—	—	—	—

(参考) 持分法投資損益 28年12月期 —百万円 27年12月期 —百万円

(2) 連結財政状態

	総資産	資本合計(純資産)	株主資本	株主資本比率	1株当たり株主資本
28年12月期	百万円 17,169	百万円 16,520	百万円 16,520	% 96.2	円 銭 436.14
27年12月期	—	—	—	—	—

(3) 連結キャッシュ・フローの状況

	営業活動によるキャッシュ・フロー	投資活動によるキャッシュ・フロー	財務活動によるキャッシュ・フロー	現金及び現金同等物期末残高
28年12月期	百万円 △3,154	百万円 3,210	百万円 385	百万円 1,042
27年12月期	—	—	—	—

2. 配当の状況

	年間配当金					配当金総額(合計)	配当性向(連結)	株主資本配当率(連結)
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
27年12月期	円 銭 —	円 銭 0.00	円 銭 —	円 銭 0.00	円 銭 0.00	百万円 —	% —	% —
28年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
29年12月期(予想)	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—

3. 平成29年12月期の連結業績予想（平成29年1月1日～平成29年12月31日）

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		税引前当期純利益		当社株主に帰属する当期純利益		1株当たり当社株主に帰属する当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭	
通期	0	—	△4,290	—	△4,180	—	△4,180	—	△110 00	

(注) 連結損益計算書において提携からの収益として記載しているものを売上高と読み替えて表示しております。

※ 注記事項

(1) 期中における重要な子会社の異動（連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動）：有・無
 新規 1社（社名）アキュセラ・インク、除外 1社（社名）

(2) 会計方針の変更

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 有・無
 ② ①以外の会計方針の変更 : 有・無

(3) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数(自己株式を含む)	28年12月期	37,877,705 株	27年12月期	— 株
② 期末自己株式数	28年12月期	70 株	27年12月期	— 株
③ 期中平均株式数	28年12月期	37,416,848 株	27年12月期	— 株

(参考) 個別業績の概要

1. 平成28年12月期の個別業績（平成28年1月1日～平成28年12月31日）

(1) 個別経営成績

(%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
28年 12月期	0	—	△483	—	△484	—	△484	—
27年 12月期	0	—	△0	—	△1	—	△1	—

	1株当たり 当期純利益	潜在株式調整後 1株当たり当期純利益
	円 銭	円 銭
28年 12月期	△12 78	—
27年 12月期	△0 02	—

(2) 個別財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	百万円	%	円 銭
28年 12月期	21	△3	△2168.5	△11 80
27年 12月期	1	△0	△38.7	△0 01

(参考) 自己資本 28年12月期 △447百万円 27年12月期 △0百万円

※ 監査手続の実施状況に関する表示

この決算短信は、金融商品取引法に基づく監査手続の対象外であり、この決算短信の開示時点において、金融商品取引法に基づく財務諸表の監査手続は終了していません。

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

当社は、平成28年12月1日付で、当時当社の親会社であったアキュセラ・インクと平成28年3月24日付で設立された当社の子会社であるアキュセラ・ノースアメリカ・インクとの間で、アキュセラ・インクを吸収合併消滅会社、アキュセラ・ノースアメリカ・インクを吸収合併存続会社とし、その対価として、当社の普通株式をアキュセラ・インクの株主に割当交付する三角合併を行い、平成28年12月6日に東京証券取引所マザーズ市場に上場しました。このため、当連結会計年度より連結財務諸表を作成しております。

本資料に記載されている業績予想及びその他の将来予測に関する記述は、現在入手可能であり、かつ当社が合理的であると判断する一定の前提に基づいており、実際の業績等はさまざまな要因により著しく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料「(1)経営成績に関する分析」及び「(4)事業等のリスク」をご覧ください。

※ 投資家向け説明会

当社は、投資家の皆様に対する説明会を積極的に開催していく予定です。日程につきましては、当社ウェブサイト (<http://www.kubotaholdings.co.jp/>) をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 経営成績・財政状態に関する分析	2
(1) 経営成績に関する分析	2
(2) 財政状態に関する分析	4
(3) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当	5
(4) 事業等のリスク	5
2. 経営方針	16
(1) 会社の経営の基本方針	16
(2) 目標とする経営指標	16
(3) 中長期的な会社の経営戦略	16
(4) 会社の対処すべき課題	18
3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方	18
4. 連結財務諸表	19
(1) 連結貸借対照表	19
(2) 連結損益計算書及び連結包括利益計算書	20
(3) 連結株主資本等変動計算書	21
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書	22
(5) 連結財務諸表に関する注記事項	23
(継続企業の前提に関する注記)	23
(連結財務諸表に対する注記)	23
(セグメント情報等)	23
(1株当たり情報)	24
(重要な後発事象)	24

1. 経営成績・財政状態に関する分析

(1) 経営成績に関する分析

当社は、平成28年12月1日付で、当時当社の親会社であったアキュセラ・インクと平成28年3月24日付で設立された当社の子会社であるアキュセラ・ノースアメリカ・インクとの間で、アキュセラ・インクを吸収合併消滅会社、アキュセラ・ノースアメリカ・インクを吸収合併存続会社とし、その対価として、当社の普通株式をアキュセラ・インクの株主に割当交付する三角合併を行っております。なお、以下の分析は、当資料を利用する投資者の便宜のため前期(平成27年12月期)の数字は旧アキュセラ・インクの連結数値を利用してしております。

当期(平成28年12月期)と前期(平成27年12月期)の比較

提携からの収益

当期の提携からの収益は870百万円となり、前期と比較して2,033百万円(前年度比 70.0%)の減少となりました。

プログラムごとの収益は以下の通りです(単位:パーセンテージを除き、千円)。

	平成28年12月期	平成27年12月期	増減額	増減率 (%)
エミクススタト塩酸塩	868,572	2,902,397	△2,033,825	△70.1
OPA-6566	1,626	324	1,302	401.9
合計	870,198	2,902,721	△2,032,523	△70.0

提携からの収益の前期からの減少は、主に「エミクススタト塩酸塩」に関する大塚製薬株式会社(以下「大塚製薬」といいます。)との共同開発契約の終了に伴い、「エミクススタト塩酸塩」に関連する臨床試験が終了したため、これまで請求可能であったフルタイム従業員の数が減少し、開発活動が段階的に縮小されていったことによるものです。「エミクススタト塩酸塩」に関する開発費の精算は、平成28年12月に完了しました。

地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性に対する治療薬候補としての「エミクススタト塩酸塩」に関連する当社の臨床プログラムは、平成28年5月に終了しました。当社は、将来において、かかる提携から収益を生み出すことを予想しておりません。

緑内障治療に用いられる大塚製薬の占有化合物である「OPA-6566」に関連した大塚製薬との開発契約は当期において終了いたしました。当社は、将来において、かかる提携から収益を生み出すことを予想しておりません。

研究開発費

当期の研究開発費は約2,370百万円となり、前期と比較して、360百万円(前年度比 13.2%)の減少となりました。

プログラムごとの研究開発費は以下の通りです(単位:パーセンテージを除き、千円)。

	平成28年12月期	平成27年12月期	増減額	増減率 (%)
エミクススタト塩酸塩	1,324,661	2,540,027	△1,215,366	△47.8
自社研究	1,044,622	189,962	854,660	449.9
OPA-6566	1,080	139	941	677.0
合計	2,370,363	2,730,128	△359,765	△13.2

エミクススタト塩酸塩契約に基づく臨床試験に関する研究開発費の前期からの減少は、エミクススタト塩酸塩契約の終了後、主に臨床第2b/3相試験の終了により関連する研究開発活動が段階的に縮小されていったことによるものです。

緑内障治療に用いられる「OPA-6566」に関連した大塚製薬との開発契約が終了し、また、平成24年度に終了した「OPA-6566」の評価結果により、当社は将来において、当該プロジェクトに関連した研究開発費の支出を予想しておりません。

当期における自社研究に関連した研究開発費は、前期と比較して主に新規プロジェクトの開発費により増加しました。これは「ラノステロール」に関するオプション及びライセンス契約に基づき、平成28年度第1四半期中にYouHealth社に対して支払われた572百万円の払戻し不可の前払金の費用計上を含んでおります。

戦略的事業計画に基づく製品候補の開発は自己資金により賄われ、提携パートナーによる資金提供を受けられないことを想定しております。この結果、研究開発の遂行ならびにインライセンス取引の実行による契約一時金やマイルストーンの支払いにより、近い将来、研究開発費用総額が米ドル換算の絶対額において増加すると予想しています。

一般管理費

一般管理費の金額は、以下の通りです（単位：パーセンテージを除き千円）。

	平成28年12月期	平成27年12月期	増減額	増減率 (%)
一般管理費	2,620,904	3,375,512	△754,608	△22.4

当期の一般管理費は前期と比較して、755百万円(前年度比22.4%)の減少となりました。主な要因は以下の通りです。

[減少要因]

- ・ 退職者に対する株式報酬費用の減少：△396百万円
- ・ 平成27年5月の臨時株主総会関連費用が当期発生しなかったことによる減少：△271百万円
- ・ 賞与及び従業員残留手当の減少：△151百万円
- ・ 前役員及び従業員に対する退職金の支払いの減少：△139百万円
- ・ 会計及びコンプライアンス・サービスに関する費用の減少：△107百万円

[増加要因]

- ・ 本社移転取引に関連する弁護士費用及び手数料の増加：372百万円

次期の見通し

平成29年12月期において、当社は製品候補のポートフォリオの開発を進展させるための戦略を遂行します。当期までにおける当社の主要な開発活動は、当社が開発収益を得ていた大塚製薬との提携の終了に伴い完了しました。翌期から、当社は独立してすべての開発プログラムを運営して参ります。幅広い製品ポートフォリオを追求することにより、臨床上的実証を行い、商業的成功を追求することのできる複数の機会が存在するものと、当社は考えます。

開発プログラムを前進させるとともに、当社は、開発の終盤において開発及び商業化を支援するための資金を提供するパートナーとの提携を検討して参ります。提携パートナー及びそれに伴う収益が確保されるまで、当社は自ら運営資金を捻出する必要があり、それにより損失が生じる予定です。

提携からの収益

平成28年6月に大塚製薬との提携契約が解除されたことにより、平成29年12月期における収益の発生は見込まれておりません。現在当社は、複数のパートナーシップの可能性を模索し、戦略パートナーとの提携を通じて将来において収益を発生させることを予定しています。

営業損失

平成29年12月期における営業損失は主に、製品候補ポートフォリオの開発及びパイプラインの継続的な拡大を自己資金で行うことによる自社研究及び開発努力の増加によるものです。平成28年12月において本社機能移転取引が完了したことから、一般管理費は平成28年12月期と比較して減少するものと予想しています。

なお、為替レートについては、1米ドル=110.00円を前提として次期の見通しを算出しております。

(2) 財政状態に関する分析

現金及び現金同等物は、取得日後3か月以内に満期が到来する、短期の流動性の高いすべての投資を含みます。現金同等物は、マネー・マーケット・ファンドで構成されております。取得日現在の満期が3か月から1年の間である投資は、短期投資に分類されます。短期投資は社債、コマーシャル・ペーパー、米国政府機関債及び預金証書で構成されております。

当社が有する現金、現金同等物及び短期・長期投資は、当期末及び前期末において、それぞれ16,459百万円及び20,085百万円でありました。第三者金融機関への預金額は、連邦預金保険公社及び証券投資家保護公社の適用ある保証上限を超える可能性があります。

当社は、現金、現金同等物及び投資の残高は、少なくとも今後12か月間において事業を行うための資金として、また運転資本、資本支出やその他の資金需要に対して、十分なものであると考えております。当社の将来の資金需要は、研究開発費の拡大、インライセンスや技術導入が成功する可能性等の様々な要因により変動します。現時点において当社は、Eyemedics社との提携契約に関連して当社が独占する資産購入オプションを除き、補完的な事業や適応症、技術に対する潜在的な投資または取得に関連した契約や基本合意書の当事者ではありませんが、将来においてこのような契約を締結するに当たり追加的な増資や借入を行う可能性があります。

当期及び前期のキャッシュ・フローの要約は以下の通りです。

(単位：千円)

	平成28年12月期	平成27年12月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△3,154,251	△2,034,811
投資活動によるキャッシュ・フロー	3,210,098	523,583
財務活動によるキャッシュ・フロー	384,829	△139,908
現金及び現金同等物の換算差額	△11,880	—
現金及び現金同等物（期末残高）	1,042,474	613,678

営業活動によるキャッシュ・フロー

当期及び前期における営業活動によるキャッシュ・フローは、それぞれ△3,154百万円及び△2,035百万円でした。営業活動によるキャッシュ・フローの変動は、主に営業費用の現金支払い171百万円の増加及び提携からの未収金の現金回収額1,290百万円の減少によります。

投資活動によるキャッシュ・フロー

当期及び前期における投資活動によるキャッシュ・フローは、それぞれ3,210百万円及び524百万円でした。投資活動によるキャッシュ・フローの増加は、主に売却可能市場性有価証券の満期償還（純額）による2,613百万円の増加によるものです（売却可能市場性有価証券の取得に関する支出31百万円の増加により一部相殺されております）。

財務活動によるキャッシュ・フロー

当期及び前期における財務活動によるキャッシュ・フローは、それぞれ385百万円及び△140百万円でした。当期における財務活動によるキャッシュ・フローの増加は主に、当期において在籍している現在の従業員及び退職した前従業員によるストック・オプションの行使に伴う普通株式の発行による収入1,304百万円によるものです（エクイティ・アワードに関する従業員の源泉徴収税による919百万円により一部相殺されました）。前期における財務活動によるキャッシュ・フローの減少は主に、エクイティ・アワードに関する従業員の源泉徴収税によるものです。

(参考) キャッシュ・フロー関連指標の推移

	平成27年12月期	平成28年12月期
株主資本比率 (%)	94.6	96.2
時価ベースの株主資本比率 (%)	143.4	230.3
キャッシュ・フロー対有利子負債比率 (年)	—	—
インタレスト・カバレッジ・レシオ (倍)	—	—

上記指標の算出方法

株主資本比率：株主資本／総資産

時価ベースの株主資本比率：株式時価総額／総資産

キャッシュ・フロー対有利子負債比率：有利子負債／キャッシュ・フロー

インタレスト・カバレッジ・レシオ：キャッシュ・フロー／利払い

(注1) いずれも連結ベースの財務数値により米国会計基準に基づく数値を用いて計算しています。

(注2) 株式時価総額は自己株式を除く発行済株式数をベースに計算しています。

(注3) キャッシュ・フローは、キャッシュ・フロー計算書における営業活動によるキャッシュ・フローをいいます。

(注4) 有利子負債には、貸借対照表における利子を生じる全ての負債を含みます。

(3) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当

当社は、これまで当社の株主資本に対する現金配当を支払ったことがありません。当面は現金配当を行わず、当社の発展及び成長のためにすべての調達可能な資金及び将来の利益を保持する意向であります。当社の将来における株主資本に対する現金配当の支払いの取締役会による決定は、当社の業績、財務状況、流動性要件、適用ある法律または契約により課される制限ならびに当社の取締役会がその独自の裁量によって関連があると判断するあらゆるその他の要因により影響を受けます。

なお、平成29年12月期において配当の予定はありません。

(4) 事業等のリスク

下記のリスク要因における将来の見通しに関する記述は、本書提出日における判断に基づいています。

当社の事業及び産業に関連するリスク

当社は商業販売の承認を受けた製品を有していません。

当社は、臨床段階の眼科専門企業であります。商業販売の承認を受けた製品を有していません。当社が開発中であるかまたは将来開発する可能性のある、すべての製品は追加の研究開発を必要とします。当社の製品候補はいずれも、いかなる国においても販売承認を受けておらず、かかる承認を受けられない場合、当社の事業が重大な損失を被る可能性があります。今日に至るまで、当社において製品収益は発生しておらず、IPOによる手取金、有価証券の売却、ならびに大塚製薬との提携契約により事業資金を賄ってきました。当社は、単独でまたは第三者と、商業的可能性のある医薬品の開発及び規制当局の承認の取得ならびに販売に成功しない限り、医薬品の販売から収益を受け取ることはありません。当社はこれらの活動において成功せず、十分な収益を挙げるることができない可能性もあります。

当社の製品候補または医療機器が臨床試験、規制承認の獲得または商業化において成功するという確証はありません。

当社は多大な時間及び財源を、当社内部で開発された視覚サイクルモジュレーター化合物から発生した主たる治療薬候補である「エミクススタト塩酸塩」の開発に投資しました。視覚サイクルモジュレーターは新たな技術であり、その長期的な安全性及び有効性は不明であります。従って当社の治療薬候補が規制承認を取得することができるの保証はありません。

せん。平成28年5月、当社は、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象とした「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2b/3相試験のトップライン結果を発表しました。かかる試験は、主要評価項目を達成することができず、平成28年6月、大塚製薬は、当社とのそれまでの提携に関するエミクススタト塩酸塩契約を終了しました。当社は、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性以外の網膜疾患の治療に関し「エミクススタト塩酸塩」の開発を継続していきます。かかる開発努力が成功するという確証はありません。臨床開発は長期、高額、かつ不確実なプロセスであり、遅延または更なる必要事項が生じるものであります。また臨床試験を完了するために十分な被験者を適時に確保できないために、遅延または申請拒否が生じる可能性もあります。製品候補または機器の試験を完了するためには数年を要し、多大な資源の支出が必要となる可能性があり、また試験のすべての段階において失敗が生じます。臨床または非臨床試験の中間結果は、その最終結果を予想させるものではなく、開発の初期段階においては有望であるように見える製品候補であっても、最終的には失敗する可能性があります。当社は販売承認を取得できないか、当社が意図した広範な適応症に対する承認を取得できない可能性があります。試験または承認において遅延が生じた場合にも当社製品の開発費用は増加します。大幅な臨床試験の遅延は、当社に先んじて競合他社が製品を市場に送り出すことを許し、当社が製品を商業化する能力を害する可能性があります。

当社が製品候補に関し、開発、規制上の承認の取得、販売及び流通を成功裡に行うことができず、または製品候補からの収益を認識できない場合、当社の業績が悪影響を受けます。

大塚製薬との提携による研究開発活動からの収益は、平成28年12月期における当社の全収益に該当し、これらの収益の喪失は当社事業に対し悪影響を及ぼします。

大塚製薬との提携契約に基づく研究開発活動からの収益は、平成27年12月期及び平成28年12月期において唯一の収益源でした。平成28年6月、大塚製薬は、完了した地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性に関する臨床第2b/3相試験において、「エミクススタト塩酸塩」が主要評価項目を達成できなかったことを理由とし、エミクススタト塩酸塩契約を含む既存の提携契約を終了しました。エミクススタト塩酸塩契約に基づく、当該契約終了通知日の翌日から6か月間にわたる活動終了期間の後、当社の収益は著しく減少しました。大塚製薬と提携して行っていた研究開発からの収益の喪失は、当社の事業に悪影響を及ぼします。さらに、大塚製薬が当社との関係を終了したことは、当社の評判を害する可能性があります。

当社は、より優れたリスク／ベネフィット特性を有する代替製品の提供による競争に直面する可能性があります。

眼科領域は急速に成長している市場であり、多数の大手企業及び新興企業が、優れた製品への研究開発及び商業化に多大な投資を行っています。それらの製品は、優れた経済価値（ただしそれに限定されない）を含む、より優れたリスク／ベネフィット特性を買手に対し提供する可能性があり、それにより将来における当社の製品候補よりも好まれる治療法となる可能性があります。それにより、将来におけるかかる製品の販売からの収益が悪影響を受け、また特定の市場または地域において製品を商業化する当社の能力も影響を受けます。

当社は平成28年12月期において損失を計上し、今後も損失を計上するものと予想しています。

当社は平成28年12月期において3,953百万円の純損失を計上し、また平成28年12月31日現在累積欠損は、7,496百万円となっています。当社は、今後数年間は製品候補の開発を継続するため当期純損失を計上すると見込んでおり、また長期的には、当社が研究開発プログラムを拡大し、追加の自社補完的な製品、技術または事業を取得またはインライセンスした場合、当期純損失を計上すると見込んでいます。かかる損失の結果、当社の金融資産は枯渇し、当社の製品候補の開発を完了できない可能性があります。もし必要な資金調達ができない場合、当社は今後事業を縮小または停止する可能性があります。今後受け入れ可能な条件で十分な資金を調達できる保証はありません。

為替変動の影響は、当社の業績に影響を及ぼします。

当社の主たる事業である研究開発活動は、現在米国子会社を拠点として行われております。米国子会社の機能通貨は米ドルであり財務諸表も米ドルで作成されます。一方、日本における報告通貨は日本円であるため、連結財務諸表を作成する過程において、当該財務諸表は日本円に換算されます。したがって、大幅な為替相場の変動があった場合には、当社の連結業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

当社は、これまで製品販売から収益を生み出したことがなく、当社が製品販売から収益を生み出し利益を得る能力は、複数の要因の遂行における成功に著しく左右されます。

当社は商業販売を承認された製品を有しておらず、製品販売から収益を生み出したことがなく、製品候補の商業販売の規制承認を受けるまで、製品販売による収益の発生を見込んでおりません。当社が収益を生み出し利益を得る能力は、研究開発の完了、規制承認及び販売承認の獲得、持続的かつ測定可能な製造プロセスへのアクセス、製品候補の発売及び販売ならびに市場による受け入れを含む複数の要因の遂行における当社の成功に著しく左右されます。

当社は、承認後の製品候補の販売において多大な費用を発生する見込みです。当社の費用は、予想を上回る可能性があり、製品の販売により当社が十分な収益を生み出すことができない場合、当社は利益を得ることができない可能性があります。

医薬品市場は競争が非常に激しいものであります。当社がいずれかの治療薬候補について承認を取得することに成功したとしても、その他の医薬品、新たな治療法及び技術に対して効果的に競争することができない可能性があります。

医薬品市場は競争が非常に激しいものです。当社の製品候補が販売承認を受けた場合、競争の度合いは、承認を受けた適応症によって異なるものと当社は予想します。現在、スターガルト病または網膜色素変性については、患者の日々の生活を支援するための視覚補助技術は存在するものの、FDAの承認を受けた治療法はありません。白内障に関しては、FDAの承認を受けた複数の治療法があるものの、白内障の予防、治癒または進行を遅らせるための薬剤による治療については、FDAの承認を受けたものは存在せず、様々な競合製品が開発中です。しかしながら、日本においては、加齢黄斑変性及び糖尿病網膜症の治療について、複数の治療法が承認を受けています。したがって当社は、市場から受け入れられるために、ACU-6151のリスク、利便性または価格プロファイルを改善する必要があります。

当社の競合他社の多くは、当社よりはるかに大きな資金的、技術的及び人的資源、医薬品の非臨床試験、臨床試験の実施、規制承認の取得、製造及びマーケティングについて、より幅広い経験、試験済みまたは受け入れられた技術に基づく治療薬候補、承認済み製品または開発の後期段階にある治療薬候補ならびに当社のターゲット市場における提携契約を有しています。

当社の競合者は、当社より先に同一適応症について特許権保護を取得し、医薬品または機器に対する規制承認を受領する可能性があります。当社の競合医薬品または機器は、当社の開発する製品よりも効果が高く、またはより効率的にマーケティングが行われ販売される可能性があります。さらに、医師はしばしば、製品のラベルに表示されておらず、臨床研究において試験され、規制当局により承認されたものとは異なる用法のため治療法を処方することがあります。これらの認可外または「オフ・ラベル」使用は医療専門家の間では一般的であり、当社の治療薬候補の潜在的競争対象となりえます。競合する治療法には外科治療や医療機器が含まれ、当社の治療薬候補を、その開発及び商業化費用を回収できる前に、旧式の、または競争力のないものとしてしまう可能性があります。

将来当社が開発する可能性のある製品の市場受け入れは限定されたものである可能性があります。

当社が規制当局より販売承認を取得する製品の商業的成功は、医療コミュニティ及び医療費の第三者負担者によりこれらの製品が、臨床的に有用であり、費用対効果が高く、安全なものであるとして受け入れられることにかかっています。仮に潜在的製品が望ましい有効性及び安全性特性を臨床試験において示したとしても、製品の市場受け入れは、上市されてみなければ判明しません。

当社の業績は将来的に変動する可能性があり、これにより当社の株価は下落する可能性があります。

当社の四半期及び年次の業績は、様々な理由により将来的に変動する可能性があり、その理由の多くは当社の支配の及ばないものであります。当社の業績は、特に、将来における提携契約の条件、かかる条件に基づき当社が支払うまたは受領するマイルストーン支払いのタイミング、規制承認、競合する技術及び製品、自社開発努力のタイミング及び度合いならびに一般的及び産業特有の経済状態を含む複数の要因の影響を受けます。

当社の業績が投資家または証券アナリストの期待を下回る場合、当社の普通株式の価格は大幅に下落するおそれがあります。さらに、当社業績及びキャッシュ・フローの変動は、当社の株価を変動させる可能性があります。当社の過去の業績の比較は必ずしも将来の業績を示すものではありません。

自社の販売及びマーケティング機能は限定的であり、当社の製品候補の開発が成功した場合、これらの機能を拡大するた

めに多大な投資を行う必要があります。

当社の製品候補の将来における商業化の機会を活用するため、当社は、販売及びマーケティング・インフラを立ち上げる必要があると考えます。当社は、これを適時に行える保証はありません。これに失敗した場合、当社は、製品収益を生み出す当社の能力を害することになります。製品候補のマーケティング、販売または流通について内部資源を使用することができない、または使用することを選択しない場合、当社は提携パートナーまたはライセンサーに頼る予定です。当社はそのような関係を構築または維持できない可能性があります。当社がマーケティング、販売及び流通について、提携パートナーまたは第三者と共同する場合、当社が受領するいずれの収益も彼らの努力に依存することとなります。このような努力は成功しない可能性があり、当社は当社ライセンサー、提携パートナーまたは第三者が当社製品に対して投入する資源の量及びタイミングを支配することができません。

当社は製品候補ポートフォリオの拡大努力において成功しない可能性があります。

当社は自社開発、ライセンス及び製薬企業またはバイオテクノロジー企業もしくは機器メーカーまたは大学とのパートナーシップにより、製品候補のポートフォリオ拡大をさらに追求しています。

当社の自社研究プログラムは、未だ実証されてない技術に関連するものです。新たな対象疾病及び製品候補を特定するための研究プログラムは、かなりの技術的、資金的及び人的資源を必要とします。当社の研究プログラムは、初期においては潜在的な化合物特定の見込みを示したとしても、製品候補を生み出さない可能性があります。

また当社は製品候補のライセンスまたは取得を試みる可能性があり、複数の理由によりこれを行うことができない可能性があります。特に、医薬製品のライセンス及び取得は競争的な分野です。当社は、適正な利益を上げることでできる条件で当該知的財産権をライセンスまたは取得することができない可能性があります。当社を競合者とみなす企業は、その製品の権利を当社に譲渡またはライセンスすることに否定的である可能性があります。当社が製品候補のポートフォリオ拡大に成功したとしても、当社がかかる製品候補の開発に成功し、適切な提携先を見つけることができるという確証はありません。当社が適切な新製品候補を特定した場合でも、かかる製品候補は、費用効率の良い方法で概念実証を確立することができない、または概念実証を全く確立することができない可能性があります。これらのリスクのいずれかが発生することにより、当社の事業が重大な悪影響を受ける可能性があります。

第三者製造者に対する依存は、当社の臨床試験及び製品導入を遅延させる可能性があります。

当社の製造の経験は限られており、また当社は専用の製造施設を有していません。また当社は当面臨床試験または商業化目的のための製品候補製造用施設を開発する予定はありません。当社製品候補の製造については、競争的供給者が存在する可能性が高いものの、新たな契約締結は遅延及び追加的支出を生じさせる可能性があり、これらは見積もることができません。

医薬品製造に内在するリスクは、第三者製造者が当社または規制当局の要求を充たす能力に影響する可能性があり、結果として遅延を生じさせる可能性があります。当社が十分な製造能力を有しない場合、製品を開発し商業化する当社の能力は悪影響を受ける可能性があります。

当社は当社の経営陣に依存しており、主要な経営陣及び科学者を維持しその意欲を引き出すことができない場合、当社の開発プログラムは遅延する可能性があり、成功裏に製品候補を開発または商業化することができない可能性があります。

当社は、当社の経営陣に依存しています。当社の経営陣のメンバーが眼科コミュニティーにおいて構築した関係及び評判は、当社がかかる領域において技術を活用し開発を継続する上で非常に重要です。当社の成功は、高い能力を有する経営陣及び科学者を惹きつけ、獲得し、意欲を引出す当社の能力に依存しています。当社は、多数の企業及び学術機関ならびにその他の研究機関の経験豊富な科学者及びその他専門家との競争に直面しています。

当社が開発する製品のいずれかが、第三者による還付金制度、好ましくない価格規制または医療改革イニシアチブの対象となる場合、当社の事業は損なわれるおそれがあります。

政府及びその他の医療サービスの第三者負担者による還付金は、当社の潜在的製品の市場に影響します。これらの負担者は、医薬品及びサービスについて請求される金額を争うことにより、継続的に医療費の制限または低減を図っていま

す。当社の将来的な製品候補について還付金が認められるとの確証がなく、認められたとしても還付金の金額は当社の将来的な製品の需要または価格を低下させる可能性があります。

政府及びその他の医療サービスの第三者負担者の承認取得は、多大な時間と費用を要します。当社の製品候補は開発中であるため、現時点において還付金の水準または方法について判断することができません。販売認可を受けた製品候補について、十分な還付金の承認を得ることができない場合、当社の事業は重大な悪影響を受ける可能性があります。

当社は組織規模を拡大しなければならない可能性があります、当該成長の管理において当社は困難に直面する可能性があります。

当社が臨床開発を通じて製品候補を前進させ、関連する商業化計画及び戦略を展開するにつれ、当社は経営、運営、販売、マーケティング、財務、人事及びその他の機能分野において従業員を雇用する必要が生じる可能性があります。これらの従業員に対する競争は激しく、当社は適時または合理的な条件で有能な人材を追加的に雇用することができない可能性があります。当社が主要な人材の獲得及び維持をするために優位性のある報酬パッケージの提供を試みる一方、当社の多くの競合他社はより多くの資金及び経験を有する可能性があります、当社が主要となる人材を勝ち取ることに困難を伴ってきました。

当社は製造物責任請求のリスクに直面し、これに対する保険を取得できず、多大な偶発債務を負う危険にさらされる可能性があります。

当社の事業は、製造物責任請求のリスクにさらされています。当社製品が人を害する場合、当社は高額かつダメージの大きい製造物責任請求の対象となる可能性があります。当社は、当社の臨床試験を年次総額100万米ドルまで補償する製造物責任保険に加入しています。当社は、開発するいずれかの製品について販売承認を得ることができた場合、その商業製品の販売を含めるよう被保険対象を拡大していく所存であります。保険はますます高額となっており、保険に入れるとしても、その補償は、合理的な条件ではない可能性があります。当社が潜在的な製造物責任請求に対し、許容できる費用により保険を取得するか、またはその他の方法により潜在的な製造物責任請求に対し保護することができない場合、当社は多大な債務にさらされることとなり、当社事業及び財務状態に重大かつマイナスの影響が生じる可能性があります。

当社は追加的な資金を必要とする可能性があります、その取得が難しい可能性があります。必要な資金調達失敗またはこれを不利な条件で行うことは、当社の開発プログラム及び他の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

平成28年12月31日現在、当社は16,459百万円の現金、現金同等物及び投資を有し、14,294百万円の運転資本を有していました。当社が有する現金、現金同等物及び投資は、少なくとも今後12か月間において当社の運転資本及び資本支出需要を充足するに十分であると当社は考えています。しかし、当社の将来的な運転資本及び資本支出需要は、製品候補の開発及び商業化における成功ならびにパートナーシップ及びアウトライセンスその他の方法により資金を調達する当社の能力を含む多くの要因に依存しています。

追加的な資金は当社が必要とする時点において有利な条件で取得できない可能性があります。当社が十分な資金を取得できない場合、当社は開発、ライセンスまたは取得プログラムの一つまたは複数縮小しなければならない可能性があります。当社が株式または株式に転換可能な証券の発行により追加的な資金調達を行う場合、同時点における既存の株主には希薄化が生じることとなり、新たな株式または株式に転換可能な証券の内容は当社の普通株式に優先するものとなります。当社が負債により追加的な資金調達を行う場合、当社は支払義務を負うこととなり、一定の制限条項に服する可能性があります。

当社のコンピューターシステムは故障またはセキュリティ侵害による被害を受ける可能性があります。

セキュリティ対策の導入にも関わらず、当社のコンピューターシステムは、コンピューターウイルス及び不正アクセスによるダメージに対し脆弱性を有しておりますが、当社の知る限りでは、当社は重大なシステム障害またはセキュリティ侵害の被害を受けたことはありません。しかしながら、かかる事象が発生し、当社のオペレーションが侵害された場合、当社の開発プログラム及び事業運営に重大な混乱が生じるおそれがあります。

当社は、秘密情報及び独占所有の情報を当社のコンピューターネットワークに保管しています。当社は、かかる情報を不正アクセスから保護するために、セキュリティ対策を導入していますが、セキュリティ侵害は、コンピューターハッカー、従業員のミス、不正行為その他を含む第三者による行為により発生する可能性があります、それにより何者かによる不正アクセスが生じる可能性があります。ハッカーが不正アクセスを行い、システムを侵害する手法は頻繁に変化するため、

当社はこれらの手法を予期するまたは適切な防止対策を講じることができない可能性があります。セキュリティ侵害は、当社の取引上の秘密情報または供給業者もしくは従業員に関する秘密情報の開示につながるおそれがあります。当社のシステム及び外部バックアップの対策は、自然災害またはその他の予期せぬ事態による被害または侵害に対して脆弱である可能性があります。そのようなことが起きた場合、当社は多大な賠償責任を負い、復旧のための費用が発生し、当社の評判及び当社の事業に悪影響が生じる可能性があります。

当社が傷害を起こすあるいは適用ある法律に違反する方法で有害物質または生体物質を使用した場合、当社は損害賠償の責任を負うことになる可能性があります。

当社の研究開発活動は、潜在的に有害な化学物質及び生体物質の使用を必要とする可能性があり、当社の事業は危険廃棄物を産出する可能性があります。当社は有害物質の使用を管理する法規制の対象となっています。当社は、これらの有害物質に関する基準を法的に遵守していると考えておりますが、当社は将来において適用ある法律を遵守するために多額の追加的費用を発生する可能性があります。当社は、有害物質からの汚染または傷害のリスクを完全に排除することはできず、そのような汚染または傷害により法的責任を負う可能性があります。事故が起きた際、当社は賠償責任を負う、罰金を課せられるまたは当社の資源を超過した債務を負う可能性があります。適用ある環境法規制の遵守のための費用は高額であり、現在または将来の環境規制は、当社の研究開発及び生産努力を害する可能性があり、それにより当社の事業、業績及び財務状態が悪影響を受ける可能性があります。

当社は「新興企業」であり、新興企業に適用される軽減された財務報告義務要件にのみ従うとの当社の決定は、投資家にとっての当社株式の魅力を減少させる可能性があります。

当社は東京証券取引所マザーズ市場の上場会社であると同時に、1933年米国証券法（改正済）セクション2(a)に定義される新興企業(emerging growth company)でもあり、かかる地位を維持する限り、当社は公開会社に適用される様々な報告要件の一定の免除を利用する可能性があります。当該免除には、当社定期報告及び委任状勧誘における役員報酬についての開示義務の軽減ならびに役員報酬についての非拘束の勧告的決議要件が含まれます。当社は平成31年末または第三者により保有される当社普通株式の市場価値が毎年6月30日現在で700百万米ドルを超える時まで、新興企業であることを認められます。当社がこれらの免除に依拠することを選択した場合、投資家が当社の普通株式をより魅力的でないものと判断する可能性があります。

最近完了した本社機能移転取引に関連するリスク

本社機能移転取引により期待される利益は実現しない可能性があります。

利益の実現は当社の支配の及ばない要因に左右される多数の重要な側面を含むため、当社は、本社機能移転取引により期待する利益を実現できない可能性があります。これらの要因には、当社が契約を締結し、事業を行う第三者の反応ならびに投資家及びアナリストの反応、本社機能移転取引に関する日本及び米国の税務当局の見解ならびに本社機能移転取引後における当社への課税ならびにその他本リスク要因で討議される事項が含まれます。例えば、日本の投資家による当社の情報へのアクセスならびに情報の量及び注目度が増加し、本社機能移転取引後に当社に投資をすることが可能となった東京証券取引所に焦点を当てた機関投資家の人数が増加したとしても、それが当社の上場株式に対する需要の増加につながるとは限りません。当社の上場株式に対する需要が増加したとしても、当社は、株式アナリストが当社に関する調査を開始するまたは継続することを投資家に対して保証することはできません。これらの期待される利益を実現できない場合、当社の株価は悪影響を受ける可能性があります。

本社機能移転取引はまた、日本の製薬会社との新たな提携を含む、日本における追加的なビジネスチャンスをもたらさない可能性もあります。かかるビジネスチャンスは、当社の技術、製品候補及び当社との提携を検討する日本の製薬会社の興味を含む、本社機能移転取引による直接的な影響を受けない要因により著しく左右されます。

これらの利益またはその他期待されるビジネスチャンスが実現されない場合、当社の事業、業績または財務状態は悪影響を受ける可能性があります。

国税局は、当社の本社機能移転取引の課税の取扱いに異議を唱える可能性があり、国税局は本社機能移転取引に対する日本の税制に関する最終決定を下しておらず、当社も要求していません。

本社機能移転取引は、日本の税制目的における適格合併として扱われるため、日本の株主に対して重大な納税義務を生

じるものではないと当社は考えます。しかしながら、国税局がかかる見解に異議を唱えた場合、本社機能移転取引の結果として、高額な日本の所得税もしくは法人税債務またはその金額を日本の株主が支払わなければならないとする立場を取る可能性があります。国税局は、本社機能移転取引に対する日本の税制に関する最終決定を下しておらず、当社も要求しておりません。国税局が本社機能移転取引に対する租税及びそれに関連する事項に関する当社の解釈に同意するという確証はありません。

本社機能移転取引後、当社は米国及び日本の法人税の対象となりました。

本社機能移転取引後、当社は、米国法人と日本法人の双方として扱われ、米国と日本の課税の対象となりました。租税の目的における当社の二重ステータスは、重大な追加的法人税を生じることにはないと当社は考えますが、税務当局は、関連する税法、規制または租税条約に関する当社の適用及び／または解釈、評価ならびに手法またはその他の裏付け資料に異論を唱える可能性があり、それが実現した場合、当社の税効果は悪影響を受ける可能性があります。当社が税務ポジションを維持してきたとしても、税務当局によるこれらのポジションに対する異議またはその他の主張により、当社は多大な費用を発生する可能性があります。さらに、当社の持株会社としてのストラクチャーは、一部の場において日本の当局から非課税で現金を米国子会社アキュセラ・インクから当社へ移転する能力の制限を含むその他の運営に関する問題を生じさせる可能性があります。

当社の二重ステータスは、将来における清算事象に悪影響を及ぼす可能性があります。

当社が買収される場合、取得者は、当社の二重ステータスを継承しなければならないため、当社が取得対象となる可能性が減少または取得における当社の評価額が低下する可能性があります。

当社によりアキュセラ・インクが売却される場合、取得者は、当社の二重ステータスを承継する必要はありません。しかしながら、かかる場合、当社は、アキュセラ・インクの売却による利益に対する米国及び日本の双方の課税の対象となる可能性があり、当社の株主もさらにかかる売却利益の分配における課税の対象となる可能性があります。したがって、当社は、アキュセラ・インクの売却を計画していませんが、将来におけるいかなる清算事象も正確に予測することができません。

当社の普通株式の保有者は、配当に対する二重課税の対象となる可能性があります。

当社普通株式に関し、米国の株主に対して支払われる配当の総額は、一般的に米国連邦法人税の目的で、受取配当金として総所得に含まれます。かかる配当は一般的に日本の源泉徴収税の対象にもなります。しかしながら、当社は日本で設立された株式会社であるものの、米国の連邦法人税の目的上は米国会社として扱われるため、かかる配当は、米国の外国税額控除制度における国外源泉所得と認められません。したがって、米国の株主は、その他の国外源泉所得を十分に有しない限り、当社から受領した配当に対する日本の源泉徴収税に関し、外国税額控除を主張することができません。

また、当社普通株式に関し、日本の株主に対して支払われる配当の総額は、日本の租税の目的上、(法人株主に対する一部の例外を除き)一般的に課税の対象となります。かかる配当は一般的に米国の源泉徴収税の対象にもなります。しかしながら、日本の外国税額控除制度においては、租税条約に基づく締約国により徴収されることが認められる外国税額のみが原則的に控除されるため、米国の源泉徴収税は、日本の課税を相殺するために控除される税金として認められない可能性があります。さらに、仮に米国の源泉徴収税が控除される税金として認められたとしても、当社は日本の会社であるため、支払われた配当は日本の税控除の目的上国外源泉所得と認められず、米国の源泉徴収税は控除されない可能性があります。したがって、日本の株主は、米国の源泉徴収税に対する日本の外国税額控除を主張できない可能性があります。日本の源泉徴収税は、原則として、日本の株主の日本の所得税に対して控除が認められ、適切な場合において日本の株主に対して払戻されます。

米国または日本の株主以外の当社の普通株式の保有者は、通常米国と日本の双方の源泉徴収税の対象となります。

当社が配当の支払いを決定した場合、配当に対する二重課税を避けるための手段を講じる可能性があります。しかしながら、かかる手段により、特定の当社の普通株式の保有者に関する二重課税が回避できるという保証はありません。

当社の商号の変更及びブランド再構築が成功するとは限らず、当社ブランドの移行が成功しない場合、当社の業績及び事業の見通しに悪影響が及ぶ可能性があります。

本社機能移転取引に関連し、当社がアキュセラ・インクの親会社となり、上場致しました。当社の商号の変更は、ロゴや画像の更新による追加的費用を発生し、また当社の提携先、サプライヤー、サービス供給業者及びその他第三者に対す

る通知のためのマーケティング費用を増加させました。さらに、当社の新ブランドは営業費用の増加につながる可能性があります。これらの費用の増加が、通常のまたは予想した費用の金額を超過した場合、当社の事業に重大な悪影響が及ぶ可能性があります。さらに、商号の変更及びブランド再構築の結果、当社はのれんの喪失を被り既存のまたは将来の提携先、サプライヤー、サービス供給業者及びその他第三者が当社の新しい社名を認識しない可能性があります。また、商号の変更及びブランド再構築により、知名度の低さが原因で優秀な人材を採用する当社の能力に悪影響が及ぶ可能性もあります。当社は、市場において新しいブランド名を発展させるために多額の資源を投じなければならない可能性があり、強いブランド認知を構築できない場合、当社のビジネス関係、採用努力及び事業の見通しに悪影響が及ぶ可能性があります。

本社機能移転取引に伴う否定的な評判は、当社の事業及び株価に悪影響を及ぼす可能性があります。

当社の再法人化は、米国において大きく報じられ、その多くは否定的なものでした。本社機能移転取引による否定的な評判により、特に米国における当社の従業員が、将来に対する不確実性を認識する可能性があります。さらに、否定的な評判は、当社のベンダー、提携先及びその他第三者が当社との取引を行うことを控えさせる可能性もあります。これらの事象はいずれも、当社の事業に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。否定的な評判はまた、当社の株主による株式の売却を促し、新たな株主による投資の意欲を低下させる可能性もあります。

規制リスク

当社は、当社の開発努力から生じる、いずれの製品についても規制承認を得ることができないおそれがあります。これらの承認を得られないことは、当社事業に重大な損害をもたらす可能性があります。

当社製品候補のいずれも米国内外における規制当局の販売承認を得ていません。当社は米国において人間を対象とした新たな臨床試験開始に先立ち、新薬臨床試験開始申請（IND）または治験医療機器の適用免除（IDE）の承認を受ける必要があります。米国における製品の商業化を行う前に、販売承認を取得するため、新薬承認申請（NDA）、市販前承認（PMA）または510(k)申請を行う必要があります。同プロセスは高額なものであり、高度に不確実かつ多大な時間を要するものであり、承認されるとしても、多くの場合製品の販売承認には数年を要します。米国外では、国によって承認手続きが異なり、追加的な製品テスト、行政機関による評価期間及び価格管理局との合意を必要とする場合があります。承認方針または規制は変更される可能性があり、規制当局は製品の承認プロセスにおいて大幅な裁量を有し、様々な理由により製品候補の承認を遅延、制限または拒否することができます。規制当局は、当社の臨床試験の設計または実施について異議を唱える可能性があり、当社は規制当局に対し当社の製品候補が安全かつ効果的であることを十分に示すことができない可能性があります。従って、規制当局が当社が開発する製品を承認するとの保証はありません。

当社の製品が承認された場合において、当社が規制要件の遵守を怠った、または製品について問題が発生した場合、当社製品は「承認後」規制または市場からの回収の対象となり、また当社は処罰の対象となる可能性があります。

当社が販売承認を取得するいずれの製品についても、適用ある規制主体による継続的な要件、審査及び定期検査の対象となります。規制承認が得られたとしても、承認は製品を市販可能な用途としては、表示される用法についてのみ認められるといった制限に服する可能性があります。また承認は、多額の費用を要する、安全性及び有効性を監視するための、販売開始後の試験及び検査についての条件または要件を含む可能性があります。当社製品もしくは製造過程についての未知であった問題の承認後の発見、または規制要件遵守の懈怠は、製品のリコールまたは市場からの回収、製造プロセスにおける制限、製品承認の停止、罰金及び罰則などの結果をもたらします。

当社は、直接的または間接的に、連邦及び州の医療詐欺及び不正防止に関する法律、虚偽請求に関する法律、医師に対する支払いの透明性に関する法律ならびに健康情報の保護及びセキュリティに関する法律の対象となる可能性があり、当社がかかる法律を遵守できないまたはこれまで完全に遵守していなかった場合、当社は重大な罰則を課せられる可能性があります。

当社が製品候補に対するFDAの承認を獲得し、米国においてそれらの製品の商業化を開始した場合、当社の運営は、直接的または当社顧客を通じて間接的に、連邦反キックバック法、連邦虚偽請求取締法及び医師に対する支払いに関するサンシャイン条項（情報公開）を含むがそれらに限定されない複数の連邦及び州の医療詐欺及び不正防止に関する法律の対象となる可能性があります。これらの法律は、とりわけ当社の将来の売上、マーケティング及び教育プログラムに影響を及ぼす可能性があります。さらに当社は、連邦政府及び当社が事業を展開する州の双方による患者のプライバシーに関す

る規制の対象となる可能性があります。当社の事業上の取決めが医療に関する適用ある法律を確実に遵守するためには、多大な費用がかかり、政府当局は、当社の事業慣習が、適用ある法律に違反すると結論付ける可能性があります。

当社に対してかかる行為が行われた際、当社が自らを防御し、当社の権利を主張できなかった場合、それらの行為は、当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

知的財産及び他の法的事項に関連するリスク

当社製品候補に関連する知的財産の専有性の保護のための努力が十分でない場合、当社は市場において効果的に競争することができない可能性があります。

当社の特許の強度は、複雑な法的、科学的及びバイオエンジニアリングの問題が絡んでおり、不確実性を有しえます。当社が提携先またはライセンス・パートナーより取得した権利に加え、当社は当社が保有する特許、特許出願及び営業秘密を含む独自の知的財産に依存しています。当社の特許出願については異議を申し立てられる、もしくは特許権取得に至らない可能性があり、また当社の既存または将来の特許は、第三者がこれらの特許を迂回して開発もしくは設計することを防止するには狭すぎる可能性があります。さらに同事項については統一された世界的な方針が存在するわけではなく、医薬品特許について認められる請求の範囲及び世界における特許権付与について特許当局により適用される基準は必ずしも予測可能または一定ではありません。

当社が申請またはインライセンスする特許が認められる保証はなく、当社の特許が有効で異議申立に対し対抗可能であるとの保証もありません。第三者による異議申し立てにより、当社の特許の範囲が狭められる、あるいは無効になる可能性もあります。当社は提携契約の違反または終了により、当社がライセンスする特許または特許出願に対する権利を失う可能性があります。さらに、当社は第三者のライセンシーとして、特許の出願、特許の維持、いくつかのライセンス契約の下で権利付与された知的財産権の保護について、これらの第三者に依存しております。当社は、当社の特許または特許出願のいくつかのものについて、これらの活動を一元的に管理しておりません。第三者によるそのような行為が、適用される法律および規則に従って実施されてきた、または今後実施される、あるいは特許またはその他の知的財産権が有効で法的拘束力のある形で成立するかどうか確信できません。また製造者は、ライセンスされた関連特許の消滅前に、当社製品候補のジェネリック版もしくはバイオシミラー版または類似の設計について販売承認を取得する可能性があります。当社がライセンスを受ける、製品候補に関連した特許による保護の幅及び強度の十分性が脅かされる場合、当該事実は他者に、当社の他の製品候補についてその開発に関する当社との提携を断念させ、または当社が商業化する能力を脅かす可能性があります。さらに、臨床試験において遅延が生じ、またはその他の事由により開発活動が妨げられる場合、特許の保護のもと当社が製品候補を販売できる期間は短縮されます。一度製品特許が消滅した場合、当社はジェネリック版、バイオシミラー版または設計の複製に関する競争に服する可能性があります。

当社がその専有情報及びノウハウの秘密性を保護できないとすれば、当社の技術及び製品の価値は悪影響を受ける可能性があります。

当社は、当社の専有情報及び権利を確立、保護及び強化するために、特許、著作権ならびに営業秘密保護、秘密保持契約ならびにライセンス契約の併用に依存しています。営業秘密保護及び秘密保持契約は、特許を取得することができない特定の専有ノウハウ、特許の強制が困難であるプロセス、ならびに特許出願の対象となっていない専有ノウハウ、情報及び技術に関わる、製品候補に関する開発プロセスのその他の要素を保護するものです。当社は、常に当社の専有権利を保護するための措置を精力的に講じておりますが、これらの努力が成功するという保証はありません。

知的財産侵害に関する第三者からの請求は、当社の製品候補に関連した当社の発見、開発及び商業化努力を阻害または遅延する可能性があります。

当社の商業的な成功は、部分的に、第三者の特許及び財産権侵害の回避にかかっています。現時点において当社は知的財産侵害に関する訴訟もしくはその他手続きまたは第三者による請求について認識していませんが、バイオテクノロジー及び医薬品産業は、特許及びその他の知的財産権についての膨大な訴訟により特徴づけられます。当社は第三者から、当社の活動がその特許を侵害している、または当社が専有技術を承認なく使用していると主張される可能性があります。当社は、当社製品を商業化する能力を阻害し、当社もしくは当社のライセンサーの製品のひとつまたは複数の側面についてその特許可能性を妨げ、または当社製品候補を販売する能力に影響を及ぼす同一もしくは類似技術を対象とすることにより、当社の事業に影響する可能性があるすべての特許、特許出願または既刊の文献のすべてを特定していない可能性があります。これらの請求に対する防御は、その請求の正当性にかかわらず、多額の訴訟費用を発生させることとなり、当社事業

から資源を大幅に割かなければならないこととなります。当社による侵害の主張が認容された場合、当社は多額の賠償金を支払わなければならない、一つもしくは複数のライセンスを第三者より取得もしくはロイヤリティを支払わなければならない、または当社製品候補及び技術の更なる開発もしくは商業化を禁止される可能性があります。

当社の特許及び当社ライセンサーの特許を保護または強制するため、当社は訴訟に関与する可能性があり、多額の費用、多大な時間が必要となる可能性があり、また敗訴する可能性もあります。

競合他社は、当社の特許及び当社ライセンサーの特許を侵害する可能性があります。当社が当社財産権について第三者に依存する限度において、当社は当該権利保護及び防御について制限された支配のみを有することとなります。侵害及び未承認使用に対抗するため、侵害に関する請求を提起する必要性が生じる可能性もあり、これには多額の費用及び多大な時間が必要となる可能性があります。加えて、侵害訴訟において裁判所は、当社または当社ライセンサーの特許は有効でないもしくは強制可能でない旨判断するまたは当社の特許が係争中の技術をカバーしないと結論付ける可能性があります。訴訟または防御手続きにおける不利な結果は、当社の一つまたは複数の特許を無効とする、または解釈を狭めるリスクを生じさせ、また当社の特許出願が特許発行に至らないリスクを生じさせます。

当社の特許及び特許出願または当社の提携者もしくはライセンサーのそれらに関して、発明の優先性を決定するため米国特許商標局による抵触審査が必要となる可能性があります。不利な結果により、当該技術の使用の停止、または勝訴当事者からそれに関する権利のライセンスを試みるが必要となる可能性があります。訴訟または抵触審査において当社は負ける可能性があり、勝利したとしても多大な費用を生じさせ、当社経営陣及び他の従業員の業務を阻害する要因となりえます。

知的財産訴訟においては大量の開示が必要となるため、訴訟手続きにおける開示により当社の秘密情報が害される可能性があります。加えて、審理、申立てまたはその他の中間的な訴訟手続きもしくは展開について公表がある可能性があります。証券アナリストまたは投資家がこれらの結果を否定的にとらえた場合、当社の普通株式の価格に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。

当社普通株式の保有に関するリスク

東京証券取引所に上場していたアキュセラ・インクの承継発行会社である米国の公開報告会社として、当社は複数の財務等の報告及び企業統治の要件に服していますが、これらの要件は履行困難となる可能性があり、当社の費用を増加させ、また、資源及び経営陣の注意が当社の事業経営からそがれる可能性があります。

米国において証券取引法に基づき普通株式を登録し、また日本の東京証券取引所マザーズ市場においてかかる普通株式を上場する公開会社として、当社では、米国及び日本における様々な財務報告及び企業統治要件に関連し、多額の法律、会計及びその他の関連費用が発生しており、また今後も継続して発生する可能性があります。特に、当社は日本において東京証券取引所の上場基準ならびに米国の証券取引法の開示要件に服することになり、これらは当社に対して重大なコンプライアンス義務を課すこととなります。このような規則及び規定は増加し、当社の法律、会計及び財務コンプライアンス費用を増加させ、より時間及び費用のかかるものになりました。これらの規則はまた、当社の取締役会もしくは取締役会委員会に従事するまたは執行役員として従事する有資格者の獲得をより困難にする可能性があります。

一定数の株主だけが取締役の選任及び株主の承認を要するその他の事項の結果に影響を及ぼすことができます。

平成28年12月31日現在、当社の筆頭株主である窪田氏は単独でならびに当社の取締役及び執行役ならびにその関係者は集団で、当社の発行済普通株式の約28.1%及び28.7%をそれぞれ実質的に保有しており、SBIホールディングス株式会社の関連会社（以下「SBIグループ」と総称します。）は当社の発行済普通株式の約38.1%を保有していました。

窪田氏及びSBIグループまたは将来におけるその他の大株主による当社普通株式の株式保有の割合は重大であり、個人として行為した場合、取締役の選任及び合併、買収またはその他の企業結合または企業再編取引の承認を含む、当社の株主の承認を要する事項に対して多大な影響を及ぼすことが可能であり、集団として投票した場合、株主による承認が必要な事項についての結果を左右することが可能です。このような所有権の集中は当社の支配権の変更を阻害し、遅延または阻止することがあり、これにより当社の株主は当社の売却を通してその保有株式のプレミアムを受ける機会を奪われる可能性があります、また当社の株価を毀損する可能性があります。これらの行為は、当社の他の株主の反対を受けた場合であっても、行われる可能性があります。窪田氏が個人としてまたはこれらのその他株主と共に行為した場合、取締役の選任及び合併、買収またはその他の企業結合取引の承認を含む、窪田製薬ホールディングスの株主による承認が必要な事項について重大な影響を及ぼすことが可能です。このような所有権の集中は当社の支配権の変更を阻害し、遅延または阻止

することがあり、これにより当社の株主は当社株式の売却を通してその保有株式のプレミアムを受ける機会を奪われる可能性があり、また当社の株価を毀損する可能性があります。これらの行為は、当社の他の株主の反対を受けた場合であっても、行われる可能性があります。

日本の会社法に基づき、一定の重要な議案は、全議決権の3分の1以上の出席または委任状による出席があり適法に開催された株主総会において直接の出席または委任状による出席による3分の2以上の賛成票を必要とします。SBIグループが、3分の2以上の賛成票が必要とされる議案を決議する株主総会に直接出席または委任状により出席した場合、かかる動議の承認を阻止することが可能です。適法に開催された株主総会への直接の出席または委任状による出席による過半数の賛成票を必要とする議案について、SBIグループは、かかる株主総会における株主の出席状況次第で必要とされる承認の獲得を阻止することが可能です。SBIホールディングスの保有割合は、将来における当社の株主により提案される動議の承認を阻止する可能性があり、それにより当社の株価は重大な悪影響を受ける可能性があります。

当社が日本に移転したことが買収の試みを抑制し、支配権の変更を伴う取引の可能性が低下するまたは排除される可能性があり、したがって当社の株主はその保有株式のプレミアムを受ける機会を奪われる可能性があります。

敵対的買収の試みは日本では珍しいことです。日本法には買収防衛策に関する規則がなく、定款には、株主ライツプランなどの敵対的買収に対する特定の防衛策が含まれていない一方で、否定的な社会的知覚及び日本企業の株主基盤の性質などを含む一定の要因は、敵対的買収の完了を困難にする可能性があり、それにより支配権の変更に関わる取引が行われる可能性は少なく、当社の株主はその保有株式の売却によりプレミアムを受ける機会を奪われる可能性があります。

当社は当面、配当を支払う予定はありません。よって、投資家はその投資のリターンとしては株価の上昇に頼らざるをえません。

当社は当面、当社の普通株式につき現金配当を支払う予定はありません。現金配当の支払いは当社の財務状態、業績、資金需要及びその他の要因にも依存することになり、また、当社の取締役会の裁量によることになります。よって、投資家は当社の普通株式に対するその投資のリターンを得るためには、株価の上昇に頼らざるをえないことになります。

2. 経営方針

(1) 会社の経営の基本方針

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。当社は、全世界において数百万人に影響を及ぼしている視力を脅かす眼疾患に対するソリューションを提供することを目的とした非臨床及び臨床開発段階における複数の技術による幅広い製品候補ポートフォリオを有しています。当社は、糖尿病網膜症、糖尿病黄斑浮腫、白内障、加齢黄斑変性、並びに主に若年成人に影響を及ぼすスターガルト病や網膜色素変性のような失明をきたす稀少性網膜疾患などを適応症とする製品候補の開発を目指しています。

(2) 目標とする経営指標

当社は、現時点では研究開発段階にあるため、ROAやROEといった財務数値を用いた経営指標を目標とはせず、革新的な眼科製品ポートフォリオを開発することを目標とし、現在開発中のプログラムの進展及び製品パイプラインの拡充に努めて参ります。

(3) 中長期的な会社の経営戦略

当社の長期的戦略は、眼疾患に苦しむ人々を助けるための医薬品及び機器を商品化することです。この目標に向けて、当社は以下の基準を満たす研究開発機会を探索しています。

- ・ 製品候補が、患者数及び／または症例数、価格及び還付機会、特許権保護ならびに競争の位置づけ等を評価した結果優れた市場潜在能力を有していること。
- ・ 医薬品及びバイオテクノロジー領域における製品候補が、標的とする疾病の科学的データと密接な関連性を有する分子標的と相互に作用すること。かかる関連性が、科学的な成功可能性を強化するため、外部専門家により証明されていること。機器製品候補は、期待される結果を実現するために、工学技術との間に説得力のある関連性及び作用機序を有すること。
- ・ 当社が、概念実証試験(POC, Proof of Concept)において、限られた特定の時間と資源を用いて市場における地位を確立することのできる製品候補の潜在的な医療効果を確立できること。

当社の目標は、革新的な眼科製品ポートフォリオを開発することです。かかる目標を達成するための当社の戦略における主要な要素は、以下のとおり、現在開発中のプログラムの進展及び製品パイプラインの拡充です。

・「エミクススタト塩酸塩」の治療的有効性を確立すること

当社の「エミクススタト塩酸塩」は、特定の網膜疾患を治療し、または進行を抑制することを目的とし、網膜内の色素上皮細胞の主要な酵素を標的とするよう設計されています。当社は現在、「エミクススタト塩酸塩」に関し、平成28年12月期第2四半期に開始した糖尿病網膜症患者に対し実施中の探索的臨床試験及び平成29年1月に開始した、スターガルト病患者に対し実施中の探索的臨床試験を評価しています。当社は、その他の眼科疾患の治療のための「エミクススタト塩酸塩」の探索的臨床試験を開始または支援することを検討しております。

・ラノステロールの治療的有効性を確立すること

ラノステロールは、生体内化合物であり、非臨床試験において、水晶体の混濁を解消させることが確認されています。当社は現在、非臨床試験を実施し、ヒトに対する使用に適したラノステロールの眼科製剤を開発しており、平成30年に、白内障患者に対する探索的臨床第1/2相試験を開始することを目標としています。当社はまた、老眼に対するラノステロールの探索的試験についても、検討する可能性があります。

・オプトジェネティクスの治療的有効性を確立すること

当社は、英国マンチェスター大学より、網膜色素変性により光受容体を損傷した患者の視力を回復するために特定の網膜細胞におけるヒトロドプシンを形質導入する遺伝子治療技術のライセンスを取得しました。当社は現在、異なる遺伝子及びウイルス構成を設計・テストしており、平成30年において、わずかな視覚機能しか持たない網膜色素変性患者に対する探索的臨床試験の開始を目指しています。

・EyeMedics社の低分子バイオミメティック化合物(ACU-6151)の治療的有効性を確立すること

当社は、眼内の細小血管を損傷することなく病的な血管新生及び血管漏出を抑制する働きにおいて、既存の抗VEGF療法と同等の効果が得られる可能性が非臨床試験で示唆された、EyeMedics社のバイオミメティック化合物(ACU-6151)に関して、同社と協働していきます。当社は現在、眼科製剤を開発中であり、平成30年に糖尿病黄斑浮腫患者に対し容量漸増に関する臨床試験の開始を目指しています。

・PBOS技術の有効性を確立すること

モバイルヘルス (mHealth) に関する当社の主要なプロジェクトは、Patient Based Ophthalmology Suite (以下「PBOS」といいます。) です。「PBOS」は当社の独自技術をもとに開発されている医療機器ソリューションです。開発の第一段階として、加齢黄斑変性(ウェット型)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及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。患者が通院をしなくても、網膜の解剖学的構造や視力の変化といった病変の経過を、医師が遠隔で診断できるシステムを確立することで、個々の患者にあった眼科治療を実現し、治療の遅れによる視力低下を防ぐことを目的に開発に取り組みます。

・自社研究、M&A及びその他パートナーシップまたはインライセンス機会を通じて、眼科領域における開発パイプラインを拡大すること

当社は、平成29年以降、社内における創薬及び開発努力、また新たな眼科製品候補に対する権利をライセンスまたはその他の方法により取得するために資金を投入する予定です。

当社は、製品候補数を増やし開発していく予定であり、そのため追加的なインライセンス取引を通じた戦略的事業計画の遂行により前払金及びマイルストーンの支払いが発生し、研究開発費用は米ドル換算の絶対額において増加すると予想しています。

[開発品パイプライン]

	開発品	適応症	非臨床	第1相	第2相	第3相	POC目標 ^{*1}	想定グローバル市場規模(2017年) ^{*2}	想定患者数(2017年) ^{*2}	導入元
医薬品	VCM ⁴ エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症 ^{*5}					2017年	17億米ドル ⁱ (糖尿病網膜症)	7,374,000 ⁱⁱ	自社
		スターガルト病 ^{*6}					2018年	-	113,000 ^{iv}	自社
		中期加齢黄斑変性					2019年	-	n/a	自社
医薬品	ラノステロール	白内障、老視(老眼)					2018年	37億米ドル ⁱⁱ (眼内レンズ-IOL市場規模)	9,599,000 ⁱⁱ (眼内レンズ-IOL移植手術患者数)	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	-	290,000 ^v	マンチェスター大学
	ACU-6151(バイオミメックス)	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を含む)					2020年	17億米ドル ⁱ (糖尿病網膜症) 62億米ドル ⁱ (ウェット型加齢黄斑変性) - (地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性)	5,004,000 ⁱⁱ (糖尿病網膜症) 4,347,000 ⁱⁱ (ウェット型加齢黄斑変性) 3,656,000 ⁱⁱ (地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性)	南カリフォルニア大学
医療機器	PBOS ^{*7}	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	-	13,925,000 ⁱⁱ (網膜血管新生による眼疾患)	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になります。

*2: 市場規模に関する出典:

i. Visiongain, Macular Degeneration (AMD) and Other Retinal Diseases: World Drug Industry and Market 2015-2025
ii. Intraocular lens Market Revenue: Market Scope, 2015 Comprehensive Report on the Global IOL Market
iii. Market Scope, 2015 Report on the Retinal Pharma & Biologics Market

- iv. Stargardt Disease Prevalence (1/8,000): Market Scope, 2015 Comprehensive Report on the Retinal Pharma & Biologics Market
 - v. Retinitis Pigmentosa Prevalence (1/3,000): Market Scope, 2015 Report on the Retinal Pharma & Biologics Market
- *3: 患者数は、米国と西欧と日本を含む。
- *4: 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をいいます。
- *5: 20名の被験者にエミクススタトあるいはプラセボを1日1回12週間にわたり経口投与。
- *6: スターガルト病: 疾患名として、「スターガート」、「スターガルト」、「スタルガルト」と呼ばれる場合がありますが、全て同じ眼疾患を示します。
- *7: PBOS: Patient Based Ophthalmology Suiteを示します。

(4) 会社の対処すべき課題

製品候補の商業化の可能性

当社は、現在販売承認を得た製品を有しない臨床段階の眼科専門企業です。当社は、研究開発パイプラインを引き続き前進させ、米国及び全世界における承認の獲得への最適な経路を探索してまいります。当社は、自社開発に加え、他の医薬品会社、バイオテクノロジー企業もしくは機器メーカーまたは大学とのライセンス契約またはパートナーシップを通じて、「エミクススタト塩酸塩」、ラノステロール、オプトジェネティクス、PBOS及びACU-6151以外にも製品候補ポートフォリオをさらに拡大していく予定です。しかしながら、まだ実証されていない技術があるため、医薬品及び機器開発研究に携わるその他の企業と同様に、臨床現場において当社の製品候補の有効性及び安全性を証明する能力には不確実性が存在します。また、第三者ベンダーとの問題、製造に関する制約ならびに規制及び/または還付金に関する課題などにより追加的な臨床試験が必要となり、スケジュールに影響が及ぶ可能性があります。当社は、開発及び規制承認の獲得ならびにマーケティングに成功しない限り、単独でまたは第三者からも、いかなる医薬品または機器候補からの販売収益も得ることはありません。

競争

製薬及びバイオテクノロジー産業は競争が激しく、当社の製品候補は、商業化された場合、現在開発中または既に販売されている薬剤、機器及び治療法と競合することになります。当社が競争に勝てるかどうかは、以下の能力に大きく依存しています。

- ・ 他の製品より優れた薬剤を創薬し開発する能力
- ・ 優秀な研究者ならびに開発・販売経験のある人材を獲得し維持する能力
- ・ 製品候補及びそれに関わる技術に関する規制上の独占権、特許及びその他の知的財産を取得し保護する能力
- ・ 必要とされる薬事規制の承認を取得する能力
- ・ ヘルスケア提供者からの払戻しを獲得する能力
- ・ 新規化合物の創薬、開発及び商業化において業務提携を成功させる能力

当社の製品候補も、その有効性及び安全性プロフィール、開発期間、価格設定、ならびに治療法の指針及び利便性など、様々な要因において競合が予想されます。

3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方

当社は、米国証券取引委員会 (SEC) 登録会社のため、米国で一般に公正妥当と認められている企業会計の基準で連結財務諸表を作成しております。

なお、国際会計基準 (IFRS) の適用につきましては国内外の諸情勢等を考慮の上、適切に対応していく方針であります。

4. 連結財務諸表

(1) 連結貸借対照表

(単位：千円)

	当連結会計年度 (平成28年12月31日)
資産の部	
流動資産	
現金及び現金同等物	1,042,474
投資	13,205,924
提携からの未収金	239,393
前払費用及びその他の流動資産	343,643
流動資産合計	14,831,434
有形固定資産（純額）	89,643
長期投資	2,210,404
その他の資産	37,053
資産合計	17,168,534
負債及び株主資本	
流動負債	
買掛金	51,132
未払債務	201,004
未払報酬	267,373
繰延賃借料及びリース・インセンティブ	17,795
流動負債合計	537,304
コミットメント及び偶発事象	
長期繰延賃借料及びリース・インセンティブ、その他	110,967
長期負債合計	110,967
株主資本	
普通株式（無額面）：	
授権株式数	
平成28年12月31日現在 151,358千株	
発行済株式数	
平成28年12月31日現在 37,878千株	23,730,843
その他の包括損失累計額	285,249
累積欠損	△7,495,829
株主資本合計	16,520,263
負債及び株主資本合計	17,168,534

(2) 連結損益計算書及び連結包括利益計算書

連結損益計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 平成28年1月1日 至 平成28年12月31日)
提携からの収益	870,198
費用	
研究開発費	2,370,363
一般管理費	2,620,904
費用合計	4,991,267
営業損失	△4,121,069
その他の収益(費用) (純額)	
受取利息	161,254
その他の収益(費用) (純額)	7,307
その他の収益合計 (純額)	168,561
税引前当期純損失	△3,952,508
法人税ベネフィット(費用)	△41
当期純損失	△3,952,549
当社株主に帰属する当期純損失	△3,952,549

連結包括利益計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 平成28年1月1日 至 平成28年12月31日)
当期純損失	△3,952,549
その他の包括損失	
税引後有価証券未実現純損失	50,783
為替換算調整勘定	300,296
包括損失	△3,601,470
(内訳)	
当社株主に帰属する包括損失	△3,601,470

(3) 連結株主資本等変動計算書

当連結会計年度(自 平成28年1月1日 至 平成28年12月31日)

(単位：千円)

	普通株式		その他の包括 損失累計額	累積欠損	合計
	株式数	金額			
平成27年12月31日現在残高	36,517	22,647,363	△65,830	△3,543,280	19,038,253
株式報酬	—	680,515	—	—	680,515
制限付普通株式の発行	397	—	—	—	—
給与税を徴収された制限付株式	△282	△522,223	—	—	△522,223
ストック・オプションの行使に関連して発行された普通株式	1,246	928,778	—	—	928,778
新規株式公開費用に関する超過法人税ベネフィット(純額)	—	△3,590	—	—	△3,590
当社株主に帰属する当期純損失	—	—	—	△3,952,549	△3,952,549
売却可能市場性有価証券未実現損失	—	—	50,783	—	50,783
為替換算調整勘定	—	—	300,296	—	300,296
平成28年12月31日現在残高	37,878	23,730,843	285,249	△7,495,829	16,520,263

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度
	(自 平成28年1月1日
	至 平成28年12月31日)
営業活動によるキャッシュ・フロー	
当期純損失	△3,952,549
当期純損失から営業活動に使用された現金(純額)への調整	
減価償却費	33,884
株式報酬	680,515
市場性有価証券のプレミアムまたはディスカウントの償却	137,275
固定資産除却損	95
営業資産及び負債の変動:	
提携からの未収金	467,262
前払費用及びその他の流動資産	△67,267
買掛金	24,614
未払債務	△161,757
未払報酬	△18,881
繰延賃借料及びリース・インセンティブ	△16,255
提携からの繰延収益	△282,220
その他の資産	1,033
営業活動によるキャッシュ・フロー(純額)	△3,154,251
投資活動によるキャッシュ・フロー	
売却可能市場性有価証券の取得	△10,412,367
売却可能市場性有価証券の満期償還	13,639,192
有形固定資産の取得	△16,727
投資活動によるキャッシュ・フロー(純額)	3,210,098
財務活動によるキャッシュ・フロー	
源泉徴収税に関する制限付株式ユニットの買戻し	△919,133
普通株式の発行による収入	1,303,962
財務活動によるキャッシュ・フロー(純額)	384,829
現金及び現金同等物の換算差額	△11,880
現金及び現金同等物の増加(減少)	428,796
現金及び現金同等物一期首残高	613,678
現金及び現金同等物一期末残高	1,042,474

(5) 連結財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(連結財務諸表に対する注記)

事業の内容と表示の基礎

事業の内容

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。当社は、全世界において数百万人に影響を及ぼしている視力を脅かす眼疾患に対するソリューションを提供することを目的とした非臨床及び臨床開発段階における複数の技術による幅広い製品候補ポートフォリオを有しています。当社は、糖尿病網膜症、糖尿病黄斑浮腫、白内障、加齢黄斑変性、並びに主に若年成人に影響を及ぼすスターガルト病や網膜色素変性のような失明をきたす稀少性網膜疾患などを適応症とする製品候補の開発を目指しています。

本社移転取引

当社は、平成28年12月1日付で、当時当社の親会社であったアキュセラ・インク(米国)との間で本社機能を移転する企業再編を実行しました。かかる再編に基づき、日本法に基づき設立された窪田製薬ホールディングス株式会社は、ワシントン州の会社として設立されたアキュセラ・インクの親会社となり、東京証券取引所に上場しました。当該本社移転取引は、当社、アキュセラ・インク及び当社の子会社であるアキュセラ・ノースアメリカ・インク(米国)との間で締結された三角合併を実施するための合併契約(以下「本三角合併契約」)に基づいております。本三角合併契約の効力発生により、(1)アキュセラ・インクを吸収合併消滅会社、アキュセラ・ノースアメリカ・インクを吸収合併存続会社として、アキュセラ・ノースアメリカ・インクは商号をアキュセラ・インクに変更し、(2)本三角合併の対価として、アキュセラ・インクの株主に対して、アキュセラ・インクの普通株式1株につき、当社の普通株式1株を交付致しました。当社の普通株式38百万株は、三角合併の効力発生と同日付けで交付され、平成28年12月6日に当社は証券コードを4596として東京証券取引所マザーズ市場に上場しております。

当社は、1934年証券取引所法(改正済)に基づくルール12g-3(a)に従い、アキュセラ・インクの登録承継者となっております。平成28年12月31日現在の授權株式数は、当社の授權株式数を示しています。

表示の基礎

添付の連結貸借対照表には連結子会社であるアキュセラ・インクと窪田オフサルミクス株式会社の財務諸表が含まれており、連結会社間の残高及び取引はすべて連結上消去されております。当社経営陣の見解では、当該連結財務諸表には、財務諸表を公正に表示するために必要な通常の反復的調整を含むすべての調整が反映されております。米国会計基準に準拠した当該連結財務諸表を作成するため、経営陣は連結財務諸表及び添付の注記で報告された数値に影響を与える見積り及び仮定を行わなければなりません。実際の結果はこれらの見積りと相違する場合があります。

(セグメント情報)

当社は1つのセグメント、すなわち医薬製品開発において事業活動を行っているため、セグメント情報の記載を省略しております。当社の重要な資産は米国に所在しており、当連結会計年度における全ての収益は米国において発生しました。

(1株当たり情報)

	当連結会計年度
分子:	
当社株主に帰属する当期純損失(千円)	△3,952,549
分母:	
加重平均発行済普通株式数(基本)(千株)	37,417
ストック・オプション、制限付株式ユニット及び制限付株式アワードによる希薄化効果(千株)	—
加重平均発行済普通株式数(希薄化後)(千株)	37,417
基本普通株式1株当たり当期純損失(円)	△105.64
希薄化後普通株式1株当たり当期純損失(円)	△105.64

当連結会計年度において、1,241,556個のエクイティ・アワードについては逆希薄化効果により希薄化後1株当たり当期純利益(損失)の計算において除外されました。

(重要な後発事象)

平成29年1月4日付で、当社の連結子会社のアキュセラ・インクはNexus Canyon Park社との間で米国ボセル市のオフィススペースと研究所スペースに関するリース変更契約を締結しました。かかる変更契約の条項に基づき、ボセル市のリースは平成32年2月28日まで延長されました。ただし、アキュセラ・インクは、平成32年2月28日の18か月前以降12か月前までに、Nexus社に対し書面による通知を行うことで、かかるリース期間を一度に限り2年間更新する権利を有します。

平成29年1月12日付で、アキュセラ・インクはZillow社との間で38,723平方フィートのシアトルオフィスをサブリースする契約(以下「Zillowサブリース契約」といいます。)を締結いたしました。かかる契約に基づき、Zillow社はアキュセラ・インクから38,723平方フィートのオフィススペースのすべてをサブリースします。

Zillowサブリース契約は、平成29年5月1日に開始し、Boeing社が平成33年11月30日にアキュセラ・インクとのサブリース契約(以下「アキュセラ・サブリース契約」といいます。)を早期解除しない限り、アキュセラ・サブリース契約が平成34年2月28日に満了するまで継続されます。Zillowサブリース契約の最初の3か月間において、アキュセラ・インクは、Boeing社に対し賃借料を支払う義務を引き続き有します。かかる3か月間の後、基本賃借料は毎月Zillow社からアキュセラ・インクに対して支払われます。基本賃借料に加え、Zillow社はまた、アキュセラ・サブリース契約に基づきアキュセラ・インクがBoeing社に対して支払う義務がある管理費用及びその他費用に対する責任を有します。Zillowサブリース契約は、アキュセラ・サブリース契約及びシアトルオフィス・スペースの家主とBoeing社との間のリース契約の支配下にあり、それらに従属するものです。Zillowサブリース契約の期間中、アキュセラ・サブリース契約に基づくアキュセラ・インクの義務は引き続き効力を有します。

Zillowサブリース契約に関連し、アキュセラ・インクは、シアトルにおける代替的なオフィススペースを評価しており、満足なスペースが確保されてから、現在のシアトルオフィスにおける機能を移転する予定です。

平成28年12月、当社は、糖尿病黄斑浮腫を最初の対象とした眼疾患の治療、予防及び診断のために、南カリフォルニア大学から導入されるライセンスにより保護されるバイオミメティック(生物模倣技術)小分子(ACU-6151)のヒトにおける概念実証を通じた臨床及び非臨床開発を共同で行うための提携契約を締結しました。かかる契約には、EyeMedics社の開発プログラムに関連した資産の取得に関する独占的オプションが含まれます。当社は、かかるオプションを、概念実証の完結ならびに臨床第2相試験における概念実証臨床試験の結果に関するEyeMedics社及びFDAとの協議から120日間以内のいつでも行使することができます。平成29年1月、アキュセラ・インクはEyeMedics社に対して、平成29年上半期における提携活動に関する前払金132百万円を支払いました。