



2022年6月24日

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 東証グロース  
問合せ先 広報・IR部  
(TEL : 03-6550-8928 (代表))

スターガルト病治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の第3相臨床試験、

最終被験者最終来院(LPLV)完了のお知らせ

窪田製薬ホールディングス株式会社(本社：東京都千代田区、以下「当社」)は、当社の100%子会社のクボタビジョン・インク(本社：米国ワシントン州、以下「クボタビジョン」)が、スターガルト病を適応症として開発している治療薬候補、エミクススタト塩酸塩(以下「エミクススタト」)の第3相臨床試験において、予定通り最終被験者の来院(LPLV, Last Patient Last Visit)を終えたことをご知らせいたします。

当臨床試験は、ランダムに10mgのエミクススタト投与群とプラセボ群に2対1で割り当て、1日1回の経口投与にて24ヶ月間実施するもので、主要評価項目には、若年性黄斑変性スターガルト病患者における黄斑部の萎縮の進行を抑制する効果の検証、副次的評価項目には、最良矯正視力のスコアや読速度などの視機能の変化が含まれます。目標としていた被験者数は162名でしたが、世界11カ国29施設で合計194名が被験者登録され、予定通り最終被験者の最後の来院(LPLV)を終えました。当社は、2022年度第3四半期までに本臨床試験のデータベースロックを完了する予定です。

本件について、当社の代表取締役会長、社長兼最高経営責任者の窪田良博士は次のようにコメントしています。「希少疾患にも関わらず、当初の予定を上回る患者登録が達成でき、さらに通院困難なコロナ禍に2年間、しっかり服用を続けていただけたのは、我々の開発している化合物に対する期待の高さの表れだと感じています。ご協力いただいた皆様には感謝するとともに、当該長期大規模臨床試験が無事に完了したことを大変嬉しく思います。また、数年間に亘り実施してきた試験の結果がこの数ヶ月間で出てまいりますので社員一同、結果を心待ちにしております。」

なお、エミクススタトは、[FDA \(米国食品医薬品局\)](#) および [EMA \(欧州医薬品庁\)](#) により、スターガルト病の治療薬として稀少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)に指定されました。



## スターガルト病について

スターガルト病は患者数が少ない網膜の遺伝性疾患であり、若年性の黄斑変性とも呼ばれ、8千～1万人に一人がこの病気にかかると推定されています(\*1)。スターガルト病を発症すると徐々に視細胞が損傷され、視野の欠損、色覚異常、歪み、ぼやけ、中心部が見えにくいといった様々な症状が見られます。一般的に小児期から青年期にかけて発症しますが、中には成人期まで視力低下を自覚しないこともあります。スターガルト病は、米国における患者数が推定で4万人に満たないことから(\*2)、新薬開発を進行促進するためにFDA（米国食品医薬品局）が制定する「オーファンドラッグ法(\*3)」の対象です。現在、症状の進行を抑制する治療薬は存在しておらず、アンメット・メディカル・ニーズ(\*4)として対応が急がれています。

\*1 Retinal Pharma & Biologics Market, Market Scope 2015.

\*2 Market Scope 社が2015年に発行した「Retinal Pharma & Biologics Market」と「UN World Population Prospects 2015」をもとに、米国、欧州、日本のスターガルト病患者数を自社で算出。

\*3 オーファンドラッグ法：オーファンドラッグは稀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。「オーファンドラッグ法」は病気を治療する医薬品の重要性に基づき研究開発が進むように、公的援助制度等を整備することを目的に米国FDAにより制定されました。米国で治療薬が存在しない疾患に対して患者数が20万人未満であること、開発コストが販売から回収される見込みがないことなどの基準が設けられている。

\*4 アンメット・メディカル・ニーズ：いまだに治療法が見つからない疾患に対する医療ニーズ。

## エミクススタトについて

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働きをする「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さら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、視覚サイクルの働きに支障をきたすだけでなく、網膜自体が損傷され、視力低下あるいは失明にいたると考えられています。網膜には、こうした有害代謝産物の前駆物質を分解する際に活躍する ABCA4 という遺伝子があります。スターガルト病はこの ABCA4 遺伝子の異常により、網膜にビタミン A 由来の有害代謝産物が過剰に蓄積されることで網膜内の細胞が損傷を受け、最終的には視機能障害をきたすと考えられています。エミクススタトは、視覚サイクルに不可欠な酵素である RPE65 を抑制することで、視覚サイクルを調節し、ビタミン A の代謝率を低下させます。これにより、スターガルト病の発症に関与すると考えられているビタミン A 由来の有害代謝産物の産生が低下するため、網膜の機能維持に有用であると理論づけられています。

## 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%子会社のクボタビジョン・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」においては、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おります。また、在宅・遠隔医療分野（モバイ



ルヘルス)における医療モニタリングデバイス (PBOS)、ウェアラブル近視デバイスの研究開発も手掛けております。(ホームページアドレス：<https://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。