

2023年12月期 第2四半期決算説明資料

窪田製薬ホールディングス

グロース市場（証券コード：4596）

2023年 8月22日

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。

事業内容：基本情報

会社名 窪田製薬ホールディングス株式会社

英名 Kubota Pharmaceutical Holdings, Co., Ltd.)

設立 2015年12月

所在地 東京都港区南青山1-15-37

代表者 代表取締役会長、社長兼最高経営責任者
窪田 良 MD, PhD

事業内容 医薬品、医薬部外品、医療用器材、開発、
輸出入ならびに製造、製造受託および販売

子会社 Kubota Vision Inc. (クボタビジョン・インク)
設立：2002年4月
所在地：アメリカ合衆国ワシントン州シアトル市
ユニバーシティーストリート600、2900号
出資比率：100%、完全子会社





① 事業内容

② 各パイプラインについて

- クボタメガネ
- 在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器：PBOS
- エミクススタト塩酸塩

③ 決算報告



事業内容



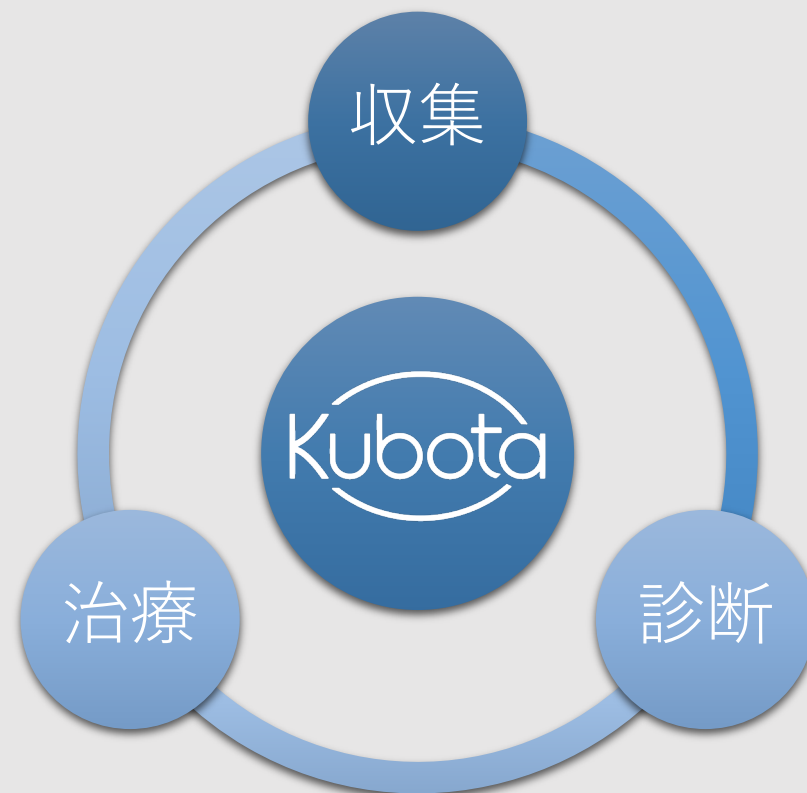
VISION

世界から失明を撲滅する

MISSION

医療のデジタル化を推進する

収集から活用までのエコシステムを構築
眼科領域のビックデータカンパニーへ



- ウェアラブルデバイスから得られる新たなバイタルデータを世界中から収集
- データを活用し、新薬開発・病気の診断・予防・治療を行う



当社の強み

- ✓ 眼科領域での高い専門性
- ✓ 最先端技術、特許戦略
- ✓ 国際性



膨大な市場で販売拡大とデータの蓄積を実施



知的財産を活用し、戦略的に事業を展開



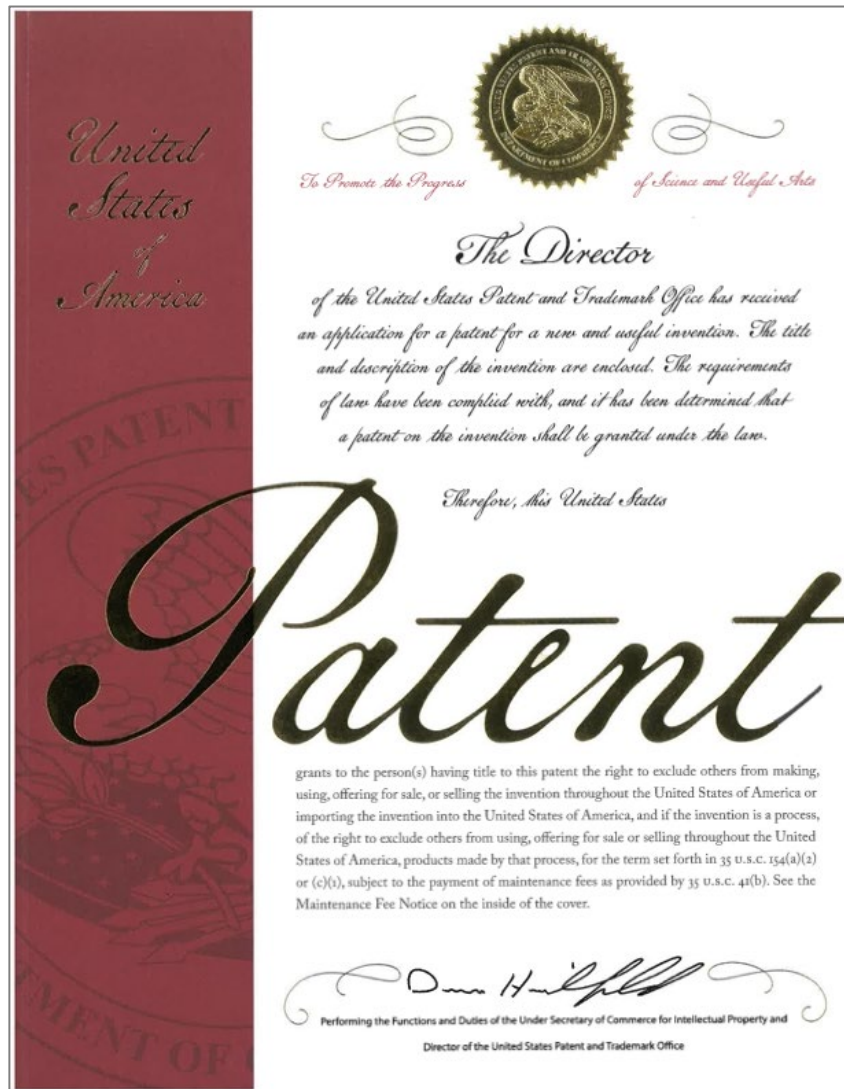
エミクススタト塩酸塩の解析データをもとに
パートナー企業との提携を模索

主な研究開発パイプライン

デバイス	詳細	デザイン および プロトタイプ	臨床試験 および 製品開発	承認・認証 510(k)	support
ウェアラブル近視メガネ	クボタメガネ				
在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite	超小型モバイルOCT (網膜、光干渉断層撮影機器)				
	NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス				NASA 有人火星探査 プロジェクト

低分子化合物	適応症	前臨床	第1相	第2相	第3相	support
エミクススタト塩酸塩	スターガルト病					FDA
	増殖糖尿病網膜症					

ビジネスモデル：知的財産を活用し、戦略的に事業を展開



医療機器

125件の特許を出願中 31件の特許を取得（2023年2月現在）

医薬品

39件の特許を出願中 53件の特許を取得（2023年2月現在）

知的財産のライセンス

- ▶ 契約一時金
- ▶ マイルストーン収入
- ▶ ロイヤリティ収入等

各パイプラインについて



クボタメガネ



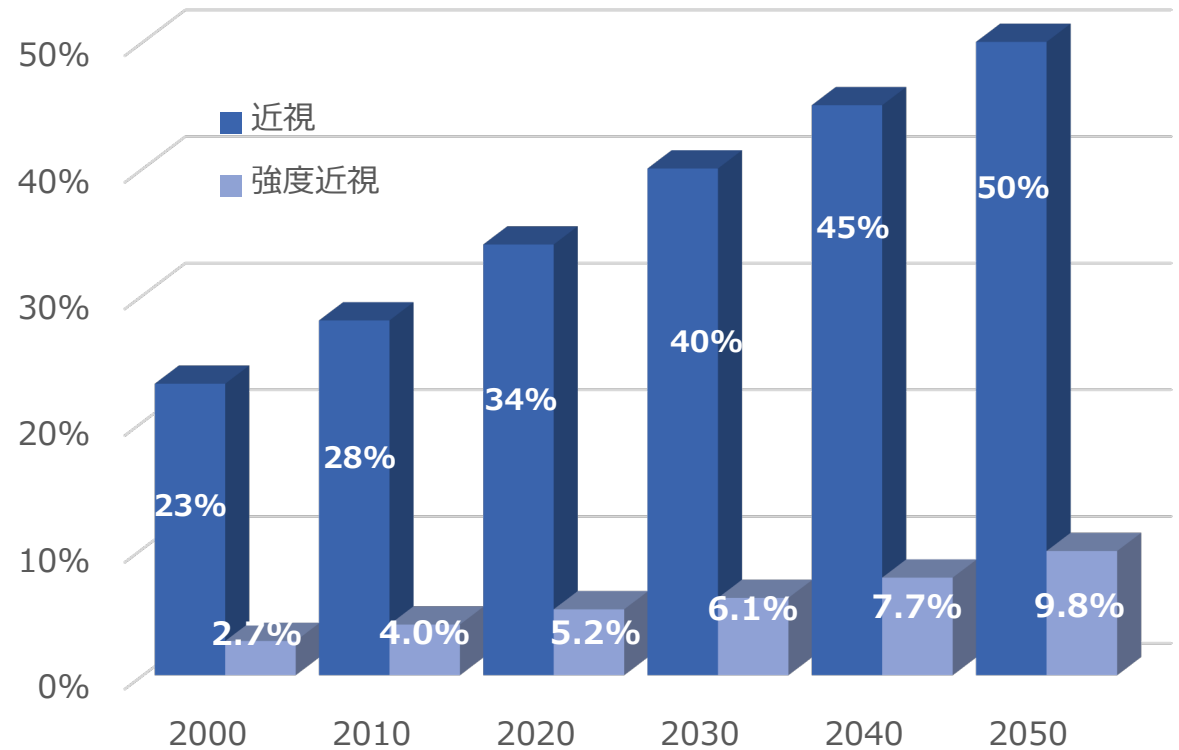
市場環境：世界の近視市場

➤ 2050年には近視人口は**世界人口の50%** (47億5800万人)になると予測され、**WHO** が**世界的な近視の流行に警告**を発している

➤ 特に失明につながる**強度近視**の人口は9億3800万人にまで増加すると予測され、**10人に1人が失明のリスク**を抱える

➤ デジタルデバイスが急速に普及する中で近視抑制は国際的な課題である

WHO 世界の近視人口



出典：The Impact of Myopia and High Myopia. Report of the Joint World Health Organization-Brien Holden Vision Institute Global Scientific Meeting on Myopia. March 2016.

市場環境：アジアの近視市場

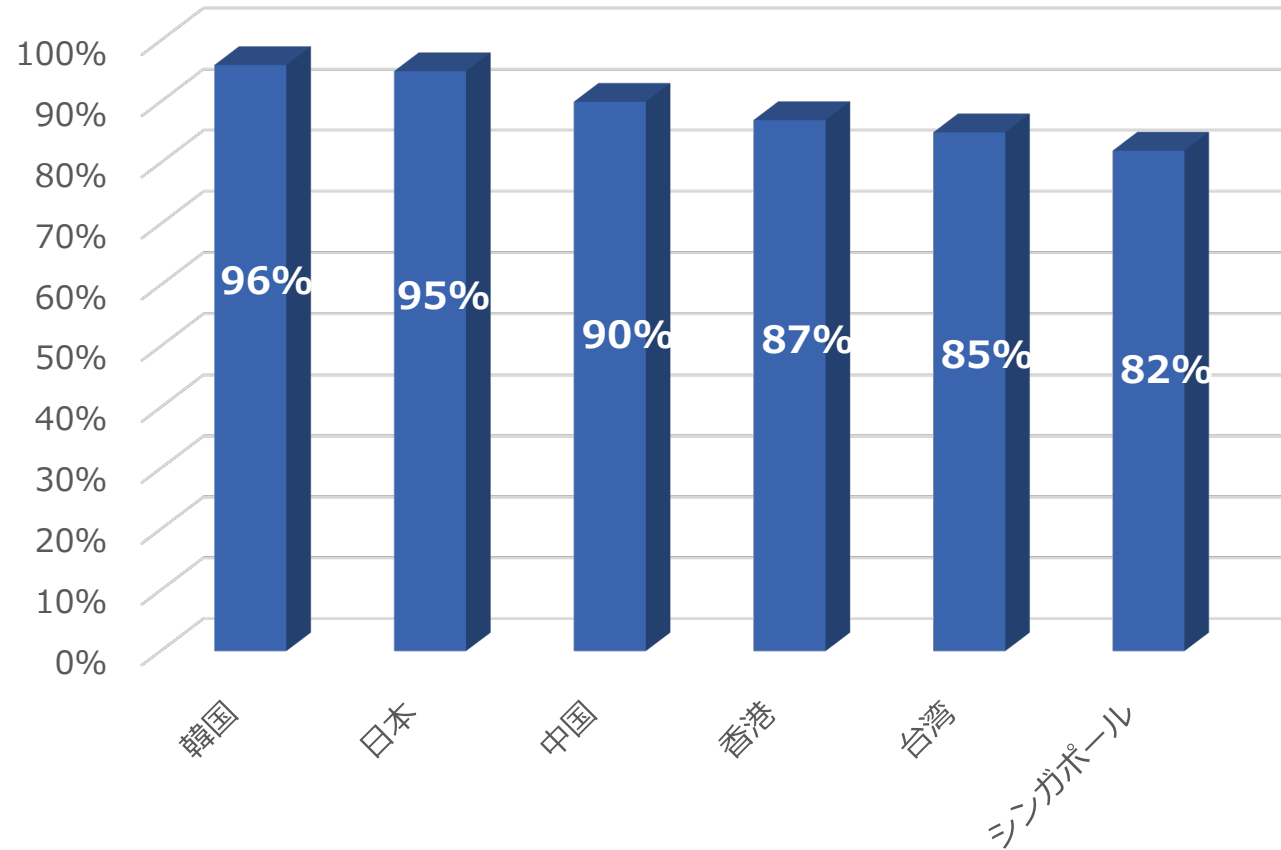
➤ 特にアジア諸国では
急速に近視人口が増加している

➤ 20歳以下の近視保有率は
80%を超える国が続出

➤ 2050年にはアジア人における
近視矯正費用は年450兆円

➤ 強度近視による医療費・光学
補助費は年350兆円*2

20歳以下の近視保有率



出典:

Morgan IG, Ohno-Matsui K, Saw SM. Myopia. Lancet. 2012;379(9827):1739- 1748

Selina Powell. 19 out of every 20 teenagers are myopic in Japan - New research has shed light on the prevalence of short-sightedness in Japan. Optometry Today, 19 Nov 2019

Yotsukura E et al. Current prevalence of myopia and association of myopia with environmental factors among schoolchildren in Japan. JAMA Ophthalmol. 2019;137(11):123-1239.

Mihai Andrei. Why 90% of China's youth suffer from near-sightedness February 16, 2017 in Feature Post

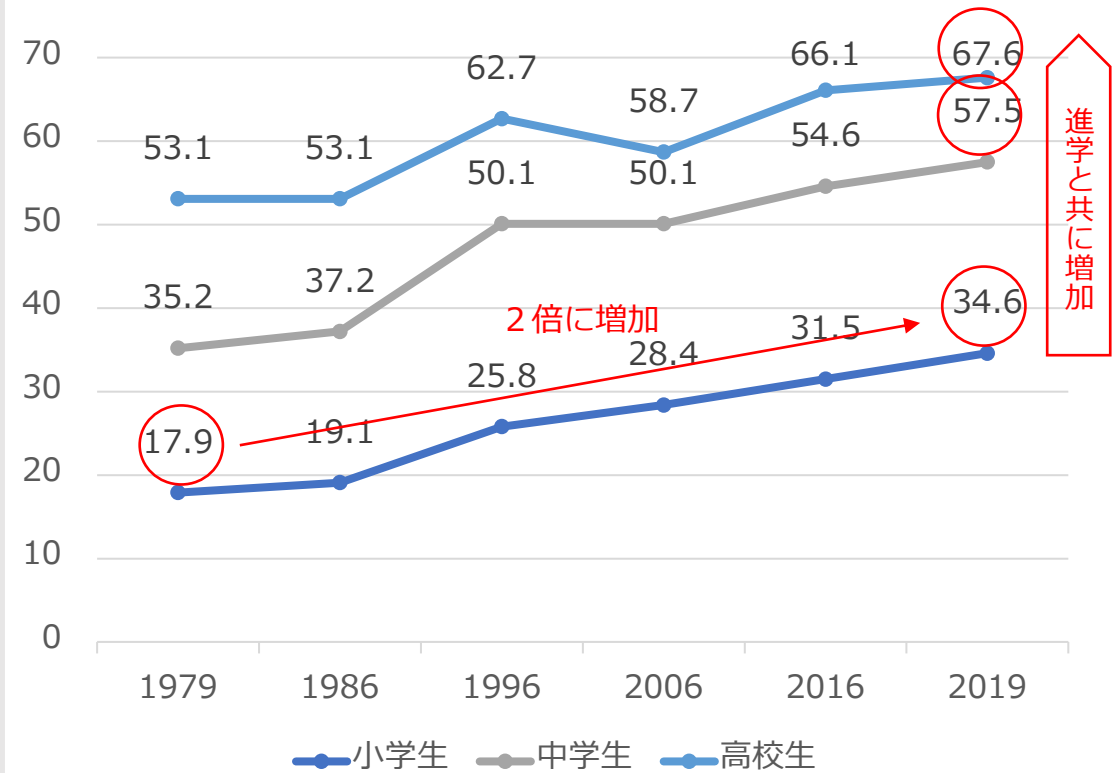
Jung SK et al. Prevalence of myopia and its association with body stature and educational level in 19-year-old male conscripts in Seoul, South Korea. Invest Ophthalmol Vis Sci. 2012;53(9):5579-5583.

市場環境：日本における学童近視の流行

- 日本は、世界有数の近視大国
- 特に小学生(34%)は40年間で2倍に増加*1
- **コロナ禍**で低学年学童において近視の進行速度が増大*2

- 東北メディカルメガバンクの22,379人の調査では**高学歴ほど眼軸が長い**傾向*3
- 近視の低年齢化と程度が強くなる傾向がある

裸眼視力1.0未満の割合の推移



出典(*1):令和2年度学校保健統計調査

(*2):中村ら. COVID-19蔓延下における学童の近視進行: Kyoto Childhood Refractive Error Study (KRES). 日眼会誌125: 1093-1098, 2021.

(*3): Fuse N, et al, Genome-wide Association Study of Axial Length in Population-based Cohorts in Japan: The Tohoku Medical Megabank Organization Eye Study. Ophthalmology Science, 2022

市場環境：近視のリスク

- 近視であること自体がquality of life (QOL) の低下につながると考えられている
- 強度近視に伴いより重篤な眼疾患の合併も懸念される

- 緑内障は国内における**失明の原因疾患の第一位である**
- 幼少期の近視の進行は、成人になってからの**失明リスクを増やす**

正視と比較した強度近視の二次性眼疾患の合併リスク

疾患	-2.00D	-5.00D	-8.00D
網膜分離症	2.2倍以上	40.6倍以上	126.8倍以上
網膜剥離	3.1倍以上	9.0倍以上	21.5倍以上
白内障	2.1倍以上	3.1倍以上	5.5倍以上
緑内障	2.3倍以上	3.3倍以上	5.0倍以上

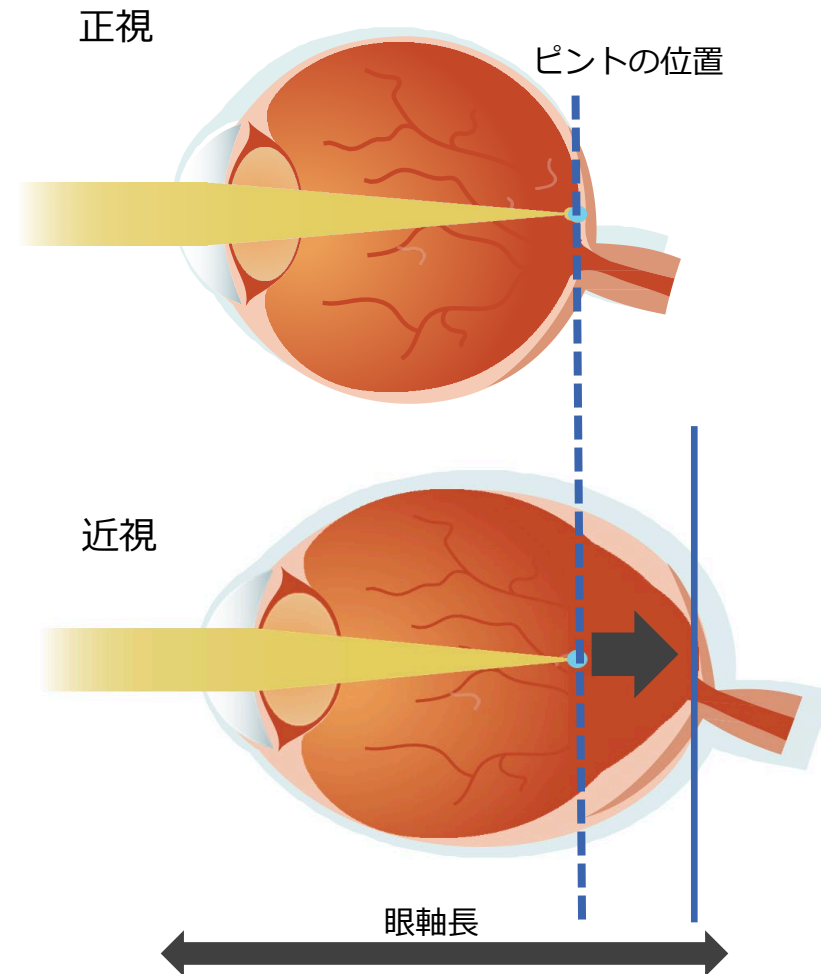
出典：Flitcroft DI. Prog Retin Eye Res. 2012

クボタメガネ：近視のメカニズム

- 近視は 屈折性近視・軸性近視・偽近視などに区分されるがその多くは軸性近視とされている
- 軸性近視は、眼軸長が楕円形に伸びることで網膜にピントが合わなり、進行するとさらに **眼軸長が伸長**する*
- 原因は**遺伝**要因と**環境**要因がある
- 昨今の近視増加は環境要因が大きいとされており、**近方視時間の増加**や**野外活動の減少**が問題視されている
- 治療は眼軸伸長を抑制することが重要となる

出典(*) : Donovan L et. Al. "Myopia progression rates in urban children wearing single-vision spectacles." Optom Vis Sci. 2012 Jan;89(1):27-32.)

＜正視の目と軸性近視の目の比較＞



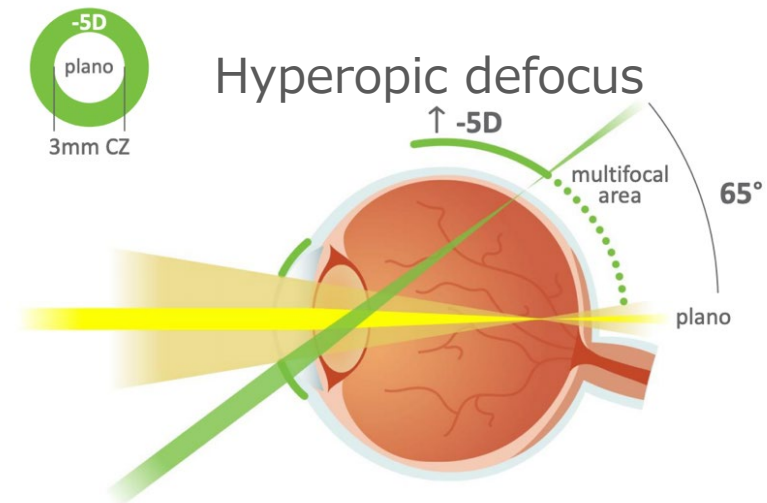
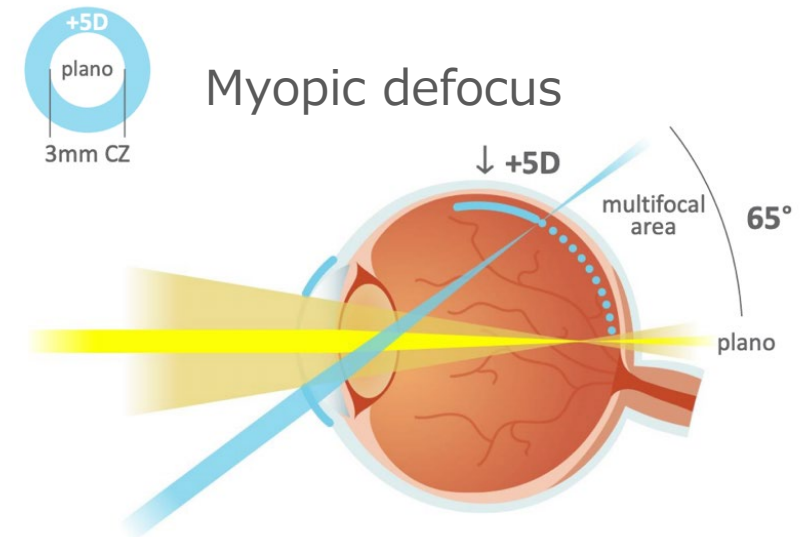
クボタメガネ：クボタメガネのアプローチ

- 眼軸伸長には、Hyperopic Defocus（遠視性デフォーカス）が寄与している
- AR技術を用いて Myopic defocus（近視性デフォーカス）という周辺網膜より手前にピントを合わせた画像を投影することで眼軸伸長を抑制し、近視の進行を阻止する*1
➡クボタメガネによる近視性軸外収差理論の実践*2

- Myopic defocusは、短時間で眼軸伸長を抑制する作用があると報告されている*1,*2
- 1日1時間のMyopic defocusにより約11時間程のHyperopic Defocusが補われる

出典：(1)Nickla DL et al. Brief hyperopic defocus or form deprivation have varying effects on eye growth and ocular rhythms depending on the time-of-day of exposure. *Exp Eye Res.* 2017;161:132-142.

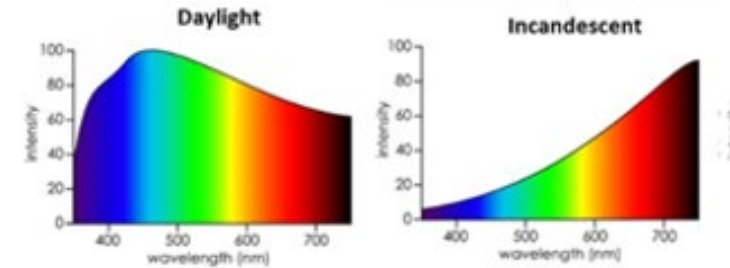
(2)Kubota R, et al. Effect of short-term peripheral myopic defocus on ocular biometrics using Fresnel "press-on" lenses in human subjects. *Scientific Reports.* 2021; 11(1):22690.



クボタメガネ：クボタメガネの光学的な特徴

- クボタメガネは太陽光と同様広いスペクトルでチューニングされている
- 眼光学機器の光放射の安全性を規定する**国際標準化機構(ISO15004)の安全基準グループ1**の規格を満たし「潜在的な危険が存在しない」とされている
- ISO15004は、日本工業規格ではJIST15004-1に相当する
- より高い安全性が求められる**ISO13485の小児用医療機器認証も取得**している

<自然光と白熱灯のスペクトルの違い>



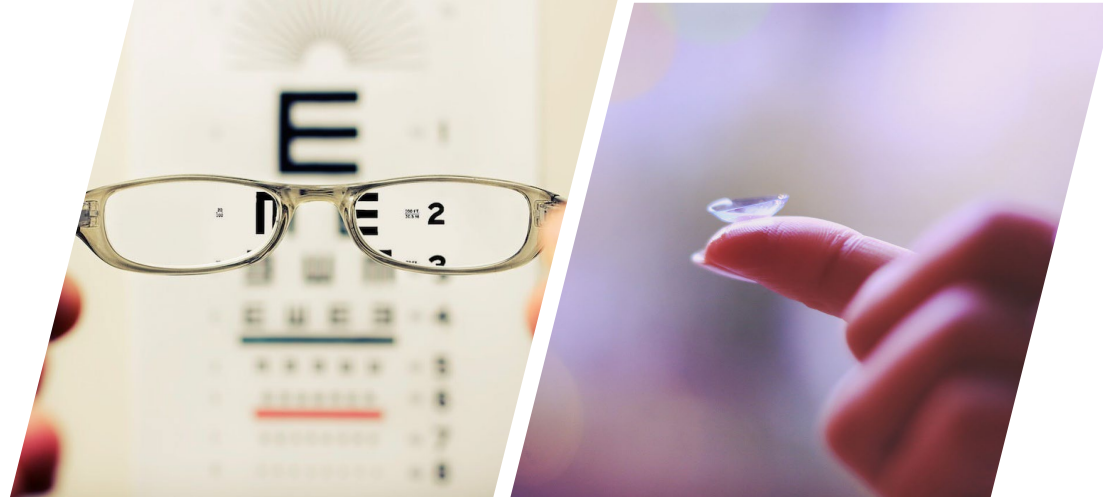
<販売中のKubota Glass® >



競合環境：近視の治療法で一般的なもの

- 屈折矯正により、光の屈折を調整し、焦点を網膜に合わせることが一般的
- 眼軸長を短縮させるような**根本的な治療法はない**

メガネ・コンタクトレンズ



手術（レーシック・ICL）

競合環境：近視の根本治療を目指して開発されている最新治療

製品クラス	主な薬効など
低濃度アトロピン 0.01%, 0.1%, 0.5%点眼薬	認可外の点眼薬、近視進行を抑制
オルソ-K®	寝ている間に一時的に角膜形状を平らに矯正 周辺部遠視性デフォーカスを軽減
多焦点ソフトコンタクトレンズ	周辺部遠視性デフォーカスを軽減
軸外収差補正メガネ	眼鏡のレンズに配合されたぼかしレンズにより、 周辺部遠視性デフォーカスを軽減
バイオレットライト透過レンズ	従来のメガネやコンタクトレンズ、窓ガラスなどで 遮断されるバイオレットライトを投影
低照度レッドライト治療法	低照度の赤色ライト照射
クボタメガネ	人工的な光 を網膜周辺部に投影し、 周辺部遠視性デフォーカスを軽減

競合環境：着用時間の違い

- Myopic defocusを用いた他社製品は存在する
- 一部には近視抑制効果があるとしてFDAで承認された製品もあるが周辺部をぼかしているので視界が制限されるがほぼ**1日中着用**しなくてはならない

クボタメガネ

- AR技術を応用し能動的な刺激を与えることで効率的にMyopic defocusを実現
- 自然な見え方を維持しながら、**1日1～2時間**で対象眼と比較して眼軸長の短縮を確認



市場環境：クボタメガネは成人でも効果が確認されている

- 卓上デバイスを用いた臨床試験
- 被験者数 7 名
- **成人を対象**とした 4 ヶ月試験
- 対象眼と比較し、眼軸長の伸展抑制を確認
- 反復測定データによる解析の結果
推定治療効果として、屈折異常については
対象眼と比較して 1 ヶ月あたり 0.068D 治療効果、
眼軸長は 1 ヶ月あたり 6.051 ミクロン 短くなることを確認
- 当試験の結果は、2022 年 7 月 シュプリンガー・
ネイチャー社刊行の Scientific Reports に掲載

www.nature.com/scientificreports

scientific reports

Check for updates

OPEN Biometric and refractive changes following the monocular application of peripheral myopic defocus using a novel augmented-reality optical system in adults

Ryo Kubota^{1,2,3}, Nabin R. Joshi³, Tara J. Fitzgerald³, Inna Samandarova³, Maksud Oliva³, Arkady Selenow³, Amitava Gupta¹, Steven Ali³, G. Lynn Mitchell⁴, Robert Chun³ & Kenneth J. Ciuffreda⁵

The prevalence of myopia is growing at an alarming rate and is associated with axial elongation of the eye. The cause of this undesirable physiological change involves multiple factors. When the magnitude of myopia approaches high levels, this accompanying mechanical effect increases the risk of developing other clinical conditions associated with permanent vision loss. Prior work has investigated how we may halt or reverse this process of axial elongation associated with myopic progression when we expose the eye to a peripheral myopic defocus stimulus. Specifically, the known, short-term response to myopic defocus stimulation is promising and demonstrates the possibility of establishing more permanent effects by regulating the axial length of the eye with specific defocus stimulation. However, how to directly convert these known, short-term effects into more long-term, permanent changes to effectively prevent these unfavourable physiological and refractive changes over time is yet to be understood. Here, we show for the first time that we can produce sustained, long-term reductions in axial length and refractive endpoints with cumulative short-term exposure to specific myopic defocus stimuli using a novel optical design that incorporates an augmented reality optical system. We believe that this technology will have the potential to improve the quality of vision in mankind.

競合環境：製品の特徴と有効性

近視治療用デバイス	クボタメガネ	HOYA Miyo Smart™	エシロール Stellest™	クーパービジョン MiSight®	Sight Glass DOT レンズ	坪田ラボ バイオレットライト透過レンズ	低照度レッドライト治療法	低濃度アトロピン (0.05%)	オルソケラトロジー
作用機序	能動的刺激：周辺部に近視性でフォーカス	受動的刺激：周辺部に近視性でフォーカス	受動的刺激：周辺部に近視性でフォーカス	受動的刺激：周辺部に近視性でフォーカス	受動的刺激：周辺部にコントラスト低減	受動的刺激：バイオレットライト透過	能動的刺激：赤色ライト照射	不明	受動的刺激：周辺部に近視性でフォーカス
仕様	メガネレンズ	メガネレンズ	メガネレンズ	ソフトコンタクトレンズ	メガネレンズ	メガネレンズ	卓上デバイス	点眼薬	ハードコンタクトレンズ
装用時間	1.5~2時間/日 6日/週	15時間/日 7日/週	12時間/日 7日/週	12-13時間/日 6日/週	12時間/日 7日/週	常時装用	3分間・2回 (4時間間隔) /日, 5日/週	N/A	就寝時
被験者平均年齢	13.6歳	10.4歳	10.7歳	10.1歳	8.1歳	9.4歳	9.4歳	8.5歳	9.2歳
屈折度数変化量	0.46D	0.38D	0.53D	0.40D	0.40D	0.22D	0.59D	0.54D	N/A
近視進行抑制率	148%	69%	65%	69%	74%	27%	75%	67%	N/A
眼軸長変化量	0.20mm	0.21mm	0.23mm	0.15mm	0.15mm	0.07mm	0.26mm	0.21mm	0.17mm
眼軸伸長抑制率	91%	66%	64%	63%	50%	14%	66%	51%	45%

(注記) 他社製品の有効性データは1年間の治験結果を提示しているが、クボタメガネの有効性のデータは小児を対象にした6か月間の治験結果を基に推定したものです
窪田製薬ホールディングス (証券コード:4596)

市場環境：ユーザビリティに関する市場優位性

非侵襲性

クボタ
メガネ



- 侵襲性が低く、高い安全性を担保
- 6歳から自分で着脱できる扱いやすさ

簡便性



多焦点
コンタク
トレンズ

オルソK®



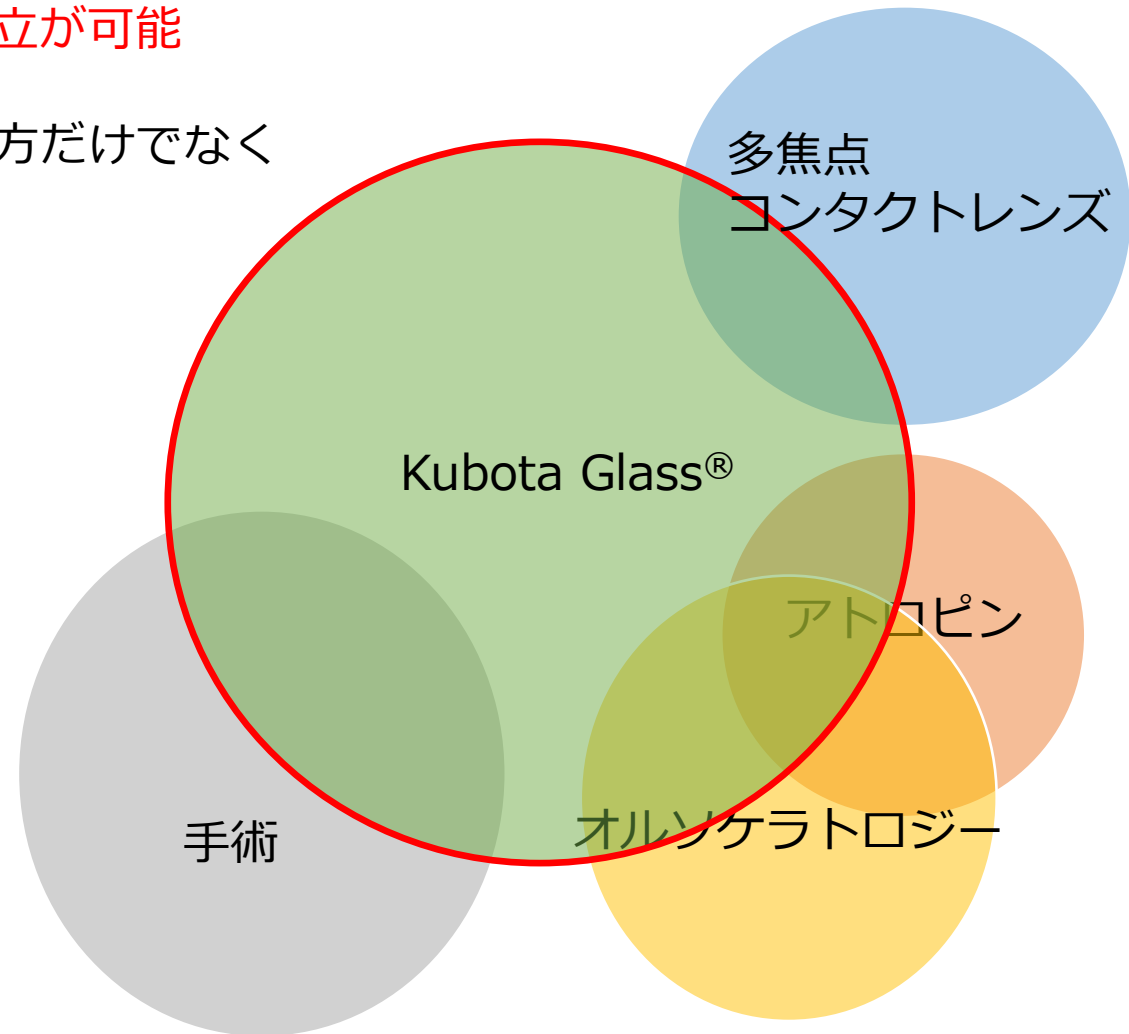
アトロピン



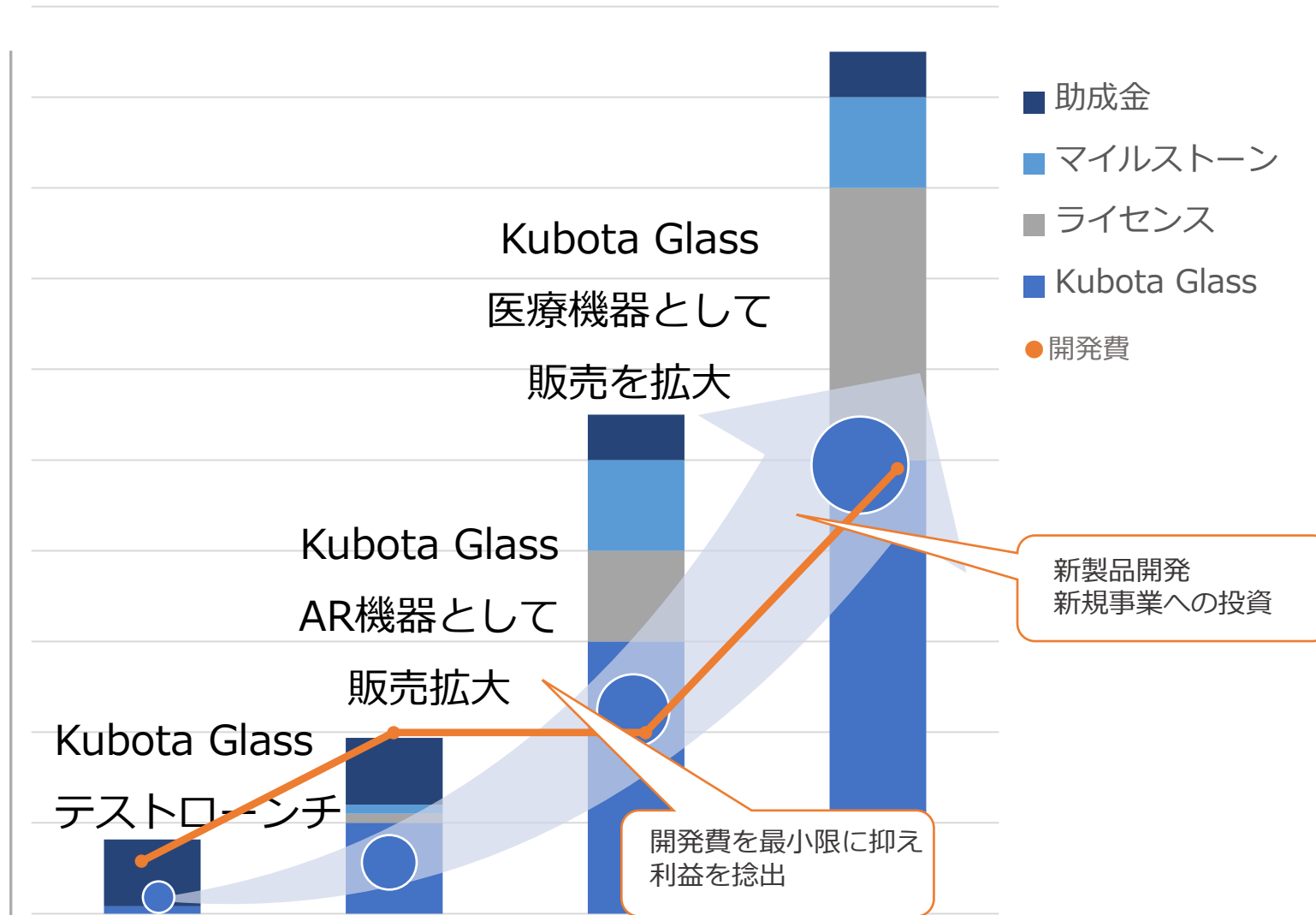
手術

市場環境：他社アプローチとの共存による優位性

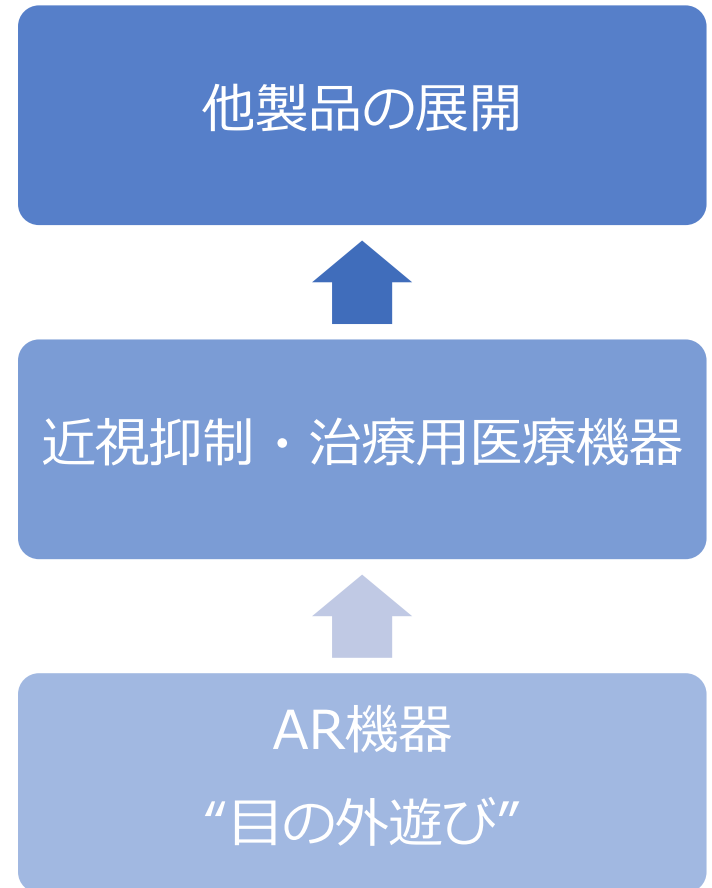
- Kubota Glass®は、他の近視治療と両立が可能
- これまでの治療方法が適応しなかった方だけでなくより多くの方が利用できる

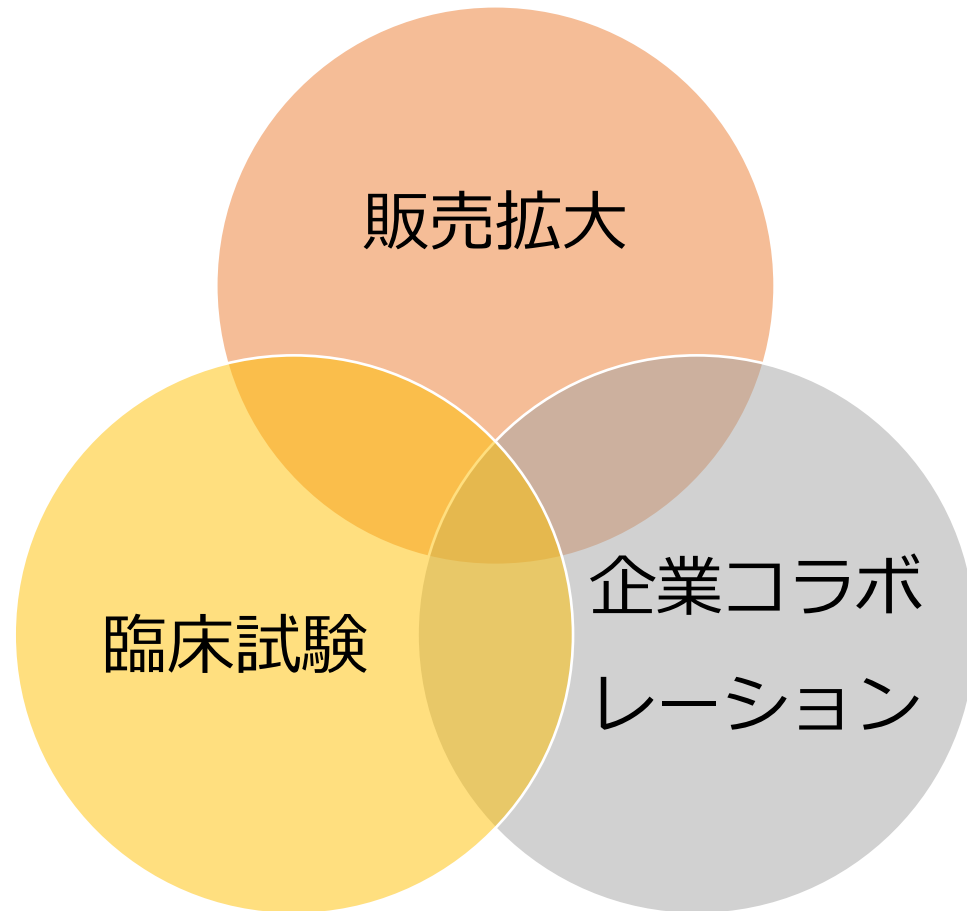


ビジネスモデル：事業成長



Kubota Glass®の事業成長





- Kubota Glassの販売拡大
 - インバウンド顧客をターゲットにした販売を拡大
 - 新市場での販売を拡大
- 臨床試験の実施
 - 他治療とのコンビネーション等、効果に関する更なるエビデンスを構築
- 積極的な企業コラボレーションを実施
 - 認知獲得・新たなビジネスモデルの創造

エミクススタト塩酸塩



市場環境：想定市場規模

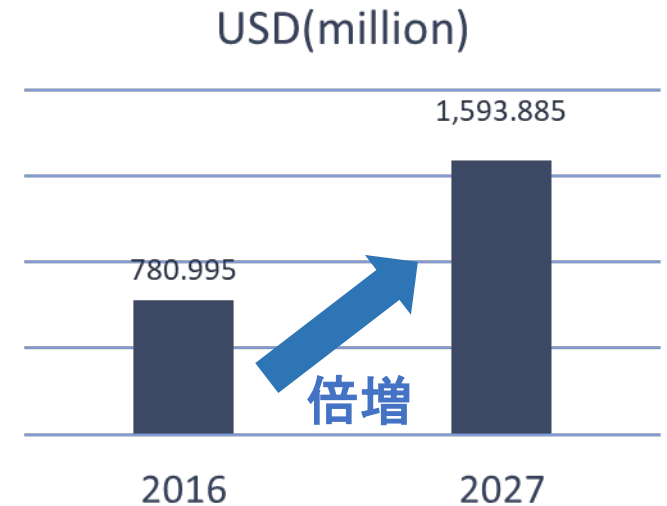
- 日本、米国、欧州で15万人弱*の患者がいると推定

*Market Scope, 2015 report on the Retinal Pharmaceuticals & Biologics Market; UN World Population Prospects 2015

- スターガルト病の市場は、2027年には約1,600億円に達すると報告されている*

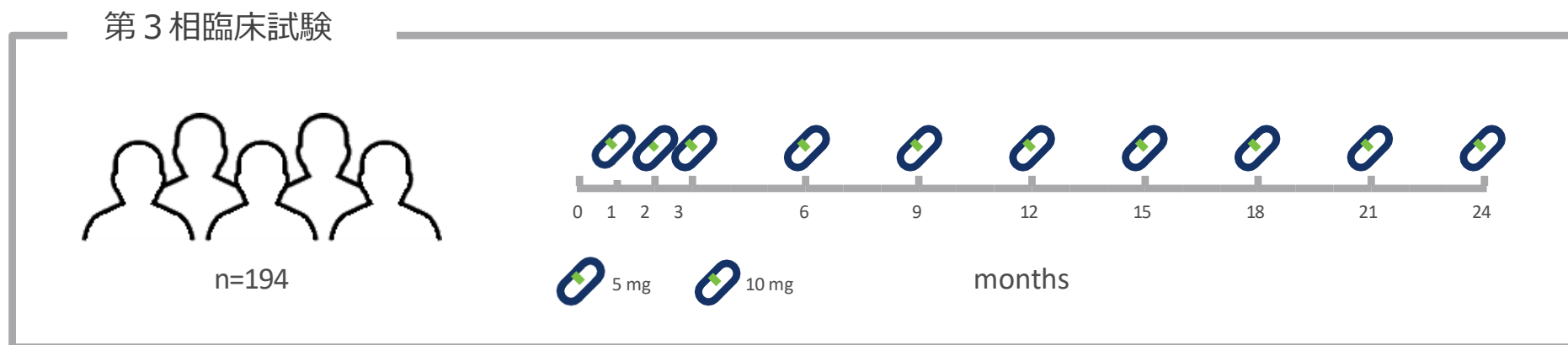
*WISEGUY RESEARCH CONSULTANTS PVT LTD Global Juvenile Degeneration (Stargardt Disease) Market Research Report- Forecast to 2027

- オーフアンドラッグは、市場を問わず、高い薬価がつきやすい傾向にある



制度	米国	欧州
市場独占期間	7年	10年
迅速承認制度	あり	あり
助言・指導の優遇	あり	あり
税制措置	あり	あり

現在の開発ステータス：パートナー候補企業と交渉を継続



- ▶ 被験者をランダムに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
- ▶ 最終的に世界11カ国*、29施設において194名の被験者を登録(当初の被験者登録目標数は162名)
- ▶ トップライン解析の結果 主要評価項目および副次的評価項目の二群間の有意差が統計的に示されず、またその差は臨床的に意味のあるものではなかった
- ▶ その後、ベースライン時の萎縮病巣領域が小さい被験者グループに対して行った解析では、**エミクススタト投与群の24カ月目の黄斑萎縮の進行率が、プラセボ投与群に比べ40.8%抑制されたことが示唆された**
($p=0.0206$ 、エミクススタト投与群 $n=34$ 、プラセボ群 $n=21$)
- ▶ エミクススタト塩酸塩の解析データをもとにパートナー企業との提携を模索する

* 米国・カナダ・ブラジル・南アフリカ・英国・フランス・スペイン・イタリア・オランダ・ドイツ・デンマークの11カ国

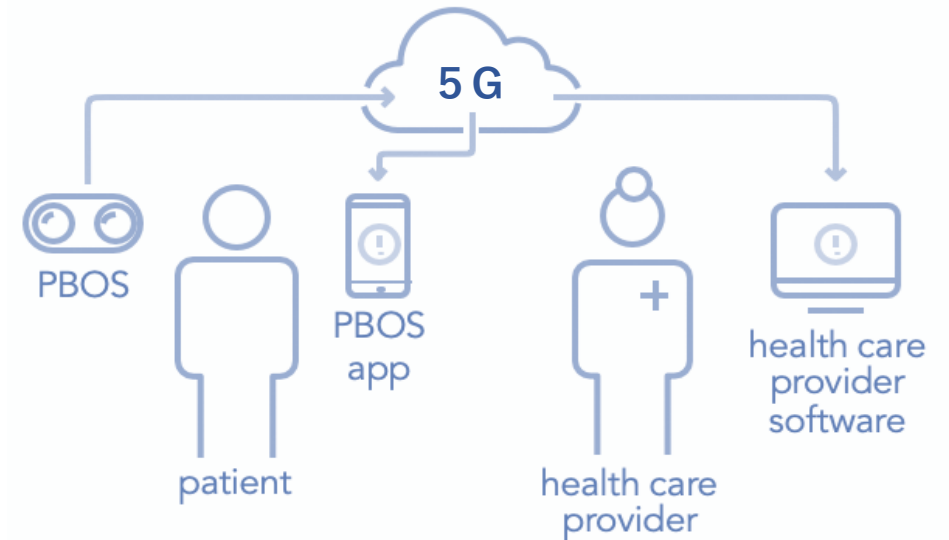
在宅・遠隔眼科医療用網膜 モニタリング機器



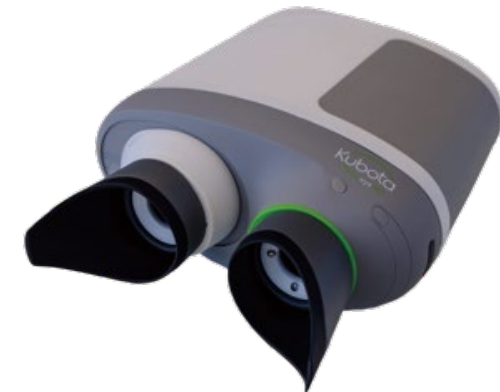
PBOS : 在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器

- 網膜の検査に用いられる
光干渉断層計（OCT）の超小型モデル
- 5Gネットワークを活用し、**在宅で網膜のモニタリングが可能**
- 目疾患の進行を検知し、通院しないと検査ができないなどの治療負担を軽減
- 鹿児島園田眼科、ハーバード大学附属ジョスリン糖尿病センターで臨床試験を実施
- パートナー企業との共同開発
商業化の可能性を模索

<モニタリングモデル>

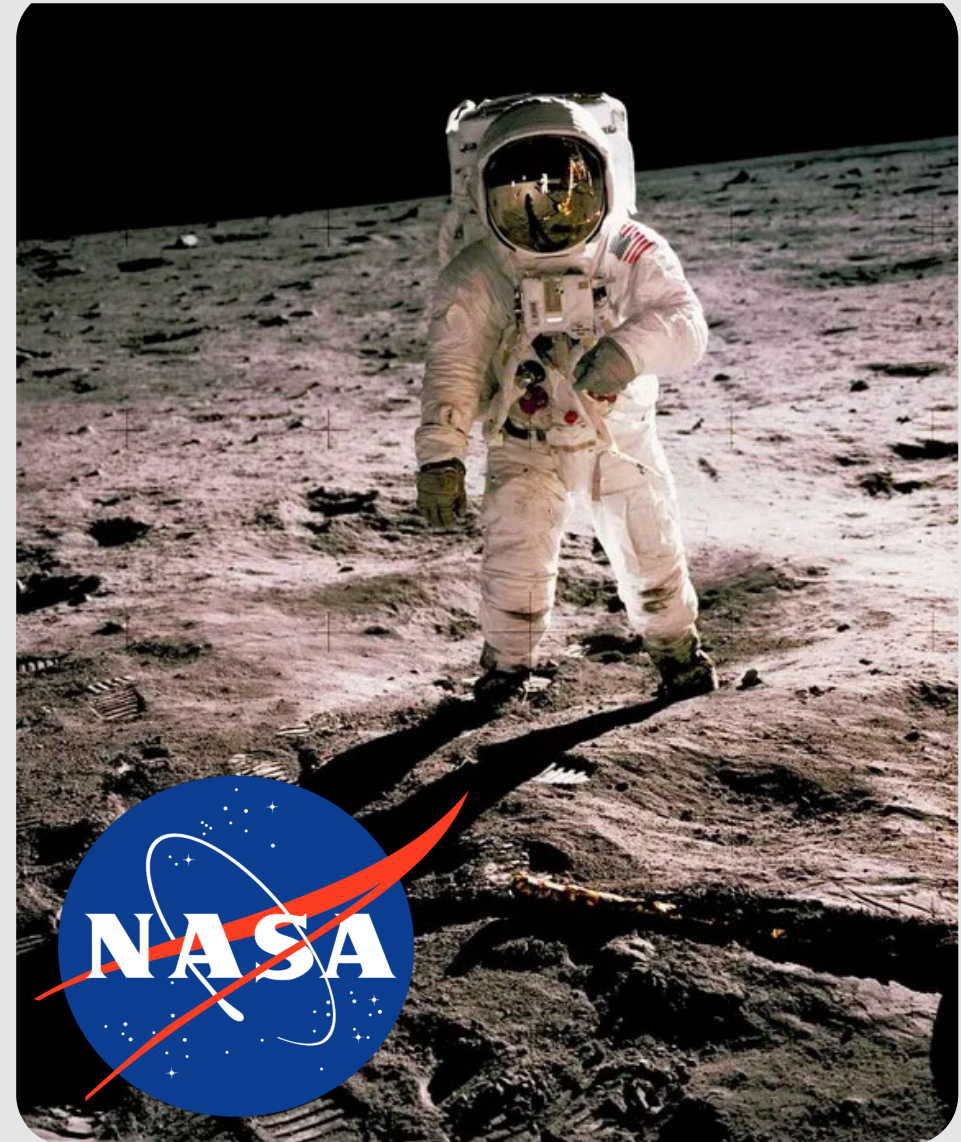


<量産型試作機（初期型）完成>



PBOS : NASA宇宙飛行士モニタリングデバイス

- 宇宙に長期滞在したヒトの69%が、Spaceflight-Associated Neuro-ocular Syndrome(SANS)と診断されている(2020年1月末時点での情報)
- 2019年3月
窪田社長がNASA Human Research Program (HRP) Investigatorに就任
- 宇宙と地球間での遠隔医療を実現すべく、宇宙飛行士のモニタリングデバイスの共同開発を開始
- 2020年初旬、高い評価を得てフェーズ1を完了



決算報告



業績概要：連結損益計算書 (IFRS)

単位：百万円	1月1日～6月30日の 6ヶ月間		増減額	増減の主な要因
	2022年度	2023年度		
事業収益	—	17	+17	
事業費用	1,172	765	△407	
売上原価	—	6	+6	
研究開発費	899	438	△461	・エミクススタト塩酸塩の研究開発費用の減少 ・ウェアラブル近視デバイスの開発費用の減少
販売費および 一般管理費	274	321	+47	・特許関連費用の増加
その他の営業収益	—	—	—	
営業損失 (△)	△ 1,172	△ 747	+425	
当期損失 (△)	△ 1,197	△ 745	+452	

業績概要：連結財政状態計算書 (IFRS)

	2022年 12月末	2023年 6月末	増減額	増減の理由
流動資産	4,182	3,542	△640	
現金および現金同等物、 その他の金融資産	4,049	3,414	△635	(※)
非流動資産	238	234	△4	
その他の金融資産	—	—	—	(※)
資産合計	4,420	3,776	△644	
流動負債	361	299	△62	・未払債務および未払報酬の減少
非流動負債	109	113	+4	
資本	3,950	3,364	△586	・当期損失計上による利益剰余金の減少
負債および資本合計	4,420	3,776	△644	
(※) 手元資金 現金および現金同等物、その他の 金融資産(流動・非流動)の合計	4,049	3,414	△635	・△738百万円：営業CF ・+113百万円：新株予約権の権利行使に伴う株式発行による収入

業績予想：2023年度の見通し

単位：百万円	事業収益	営業利益	税引前利益	当期利益
2023年度（予想）	—	—	—	—
2022年度（実績）	8	△2,038	△2,016	△2,016

● 事業収益

- 合理的な見積りが可能になった時点で見通しを開示する予定
 - 支出： 現行バージョン製品に対して顧客意見等を反映させつつ、製造費用の削減を継続的に行いながら追加的開発の優先順位を決定しており、開発費用に大幅な変動可能性がある
 - 収益： Kubota Glass®の高い新規性により、現時点で客観的な需要を判断することが困難

本プレゼンテーション資料に含まれる将来の財務情報および予測にかかる記述は、2023年8月10日付「2023年12月期 第2四半期決算短信」に基づいて記載されています。これらの将来の財務情報および予測は当初の開示の時点の記述であり、既の開示されている将来の財務情報および予測を更新するものでも正確性を保証するものでもありません。

Thank you

