



# 事業計画および成長可能性資料

窪田製薬ホールディングス  
グロース市場（証券コード：4596）  
2025年3月28日

# 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

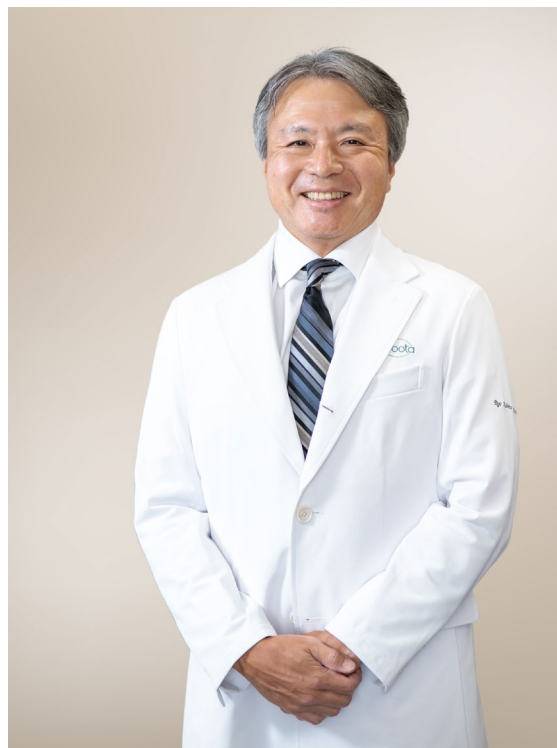
事業内容 医薬品、医薬部外品、医療用器材、開発、輸出入ならびに製造、製造受託および販売

子会社 Kubota Vision Inc. (クボタビジョン・インク)  
出資比率：100%、完全子会社

Kubota Vision Japan株式会社 (クボタビジョン・ジャパン)  
出資比率：100%、完全子会社



# 代表者Profile：窪田良 MD, PhD



- 1991年 慶應義塾大学医学部卒業、医師免許取得
- 1996年 日本眼科学会専門医認定を取得、虎の門病院勤務
- 1997年 緑内障原因遺伝子「ミオシリン」の発見（1995年冬）、論文発表、「須田賞」を受賞
- 1999年 慶應義塾大学医学部大学院修了博士号取得
- 2001年 ワシントン大学医学部眼科学教室助教授 就任
- 2002年 アクセセラ・インク設立、社長兼CEO 就任
- 2008年 ワシントン州日米協会理事 就任
- 2012年 ケース・ウェスタン・リザーブ大学フォーサイト・アドバイザリーメンバー 就任
- 2014年 G1ベンチャー アドバイザリー・ボード 就任、全米アジア研究所理事 就任、慶應義塾大学医学部客員教授 就任
- 2015年 医学系大学産学連携ネットワーク協議会(medU-net)相談役 就任
- 2016年 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 就任
- 2018年 NASAディープスペースミッション、HRP研究代表者 就任
- 2020年 FDA Orphan Products Clinical Trials Grants Programに採択

## 【現在の主なメンバーシップ】

- ・ 米国眼科学会(AAO) ・ 視覚眼科研究協会(ARVO)、 ・ 日本眼科学会、 ・ 在日米国商工会議所 (ACCJ)
- ・ 慶應医学会 ・ 慶應義塾大学医学部新聞編集委員 ・ 一般社団法人日米協会会員 ・ ワシントン州日米協会理事
- ・ Forbes Japanオフィシャルコラムニスト、 ・ Japan Timesコラムニスト
- ・ アメリカ航空宇宙局 (NASA) 有人火星探査を含むディープスペースミッションの Principal Investigator (研究代表者)

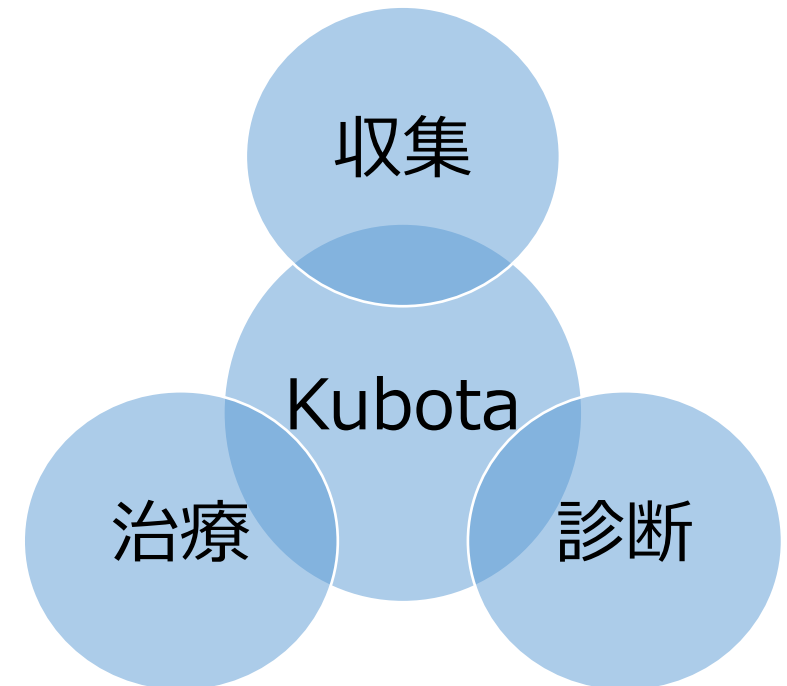
# 私たちの目指す世界

## ● 世界から失明を撲滅する

当社は、創業当初より、「世界から失明を撲滅する」という目標に対し、医療のデジタル化を推進すべく、眼科領域に特化したバイオテック企業として、数々の革新的な治療薬・医療技術の開発に取り組んでまいりました。1日でも早く、眼疾患で不安を抱えておられる方々に、希望と安心、そして目が見える喜びと感動をお届けすべく、今後も確固たる信念のもとに日々研究開発及びマーケティングに精力的に取り組んでまいります。

### Our mission

## 眼科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  
眼科領域のビッグデータカンパニーへ

# 目次

---

## ① 成長戦略とビジネスモデル

## 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：eyeMO
- エミクススタト塩酸塩

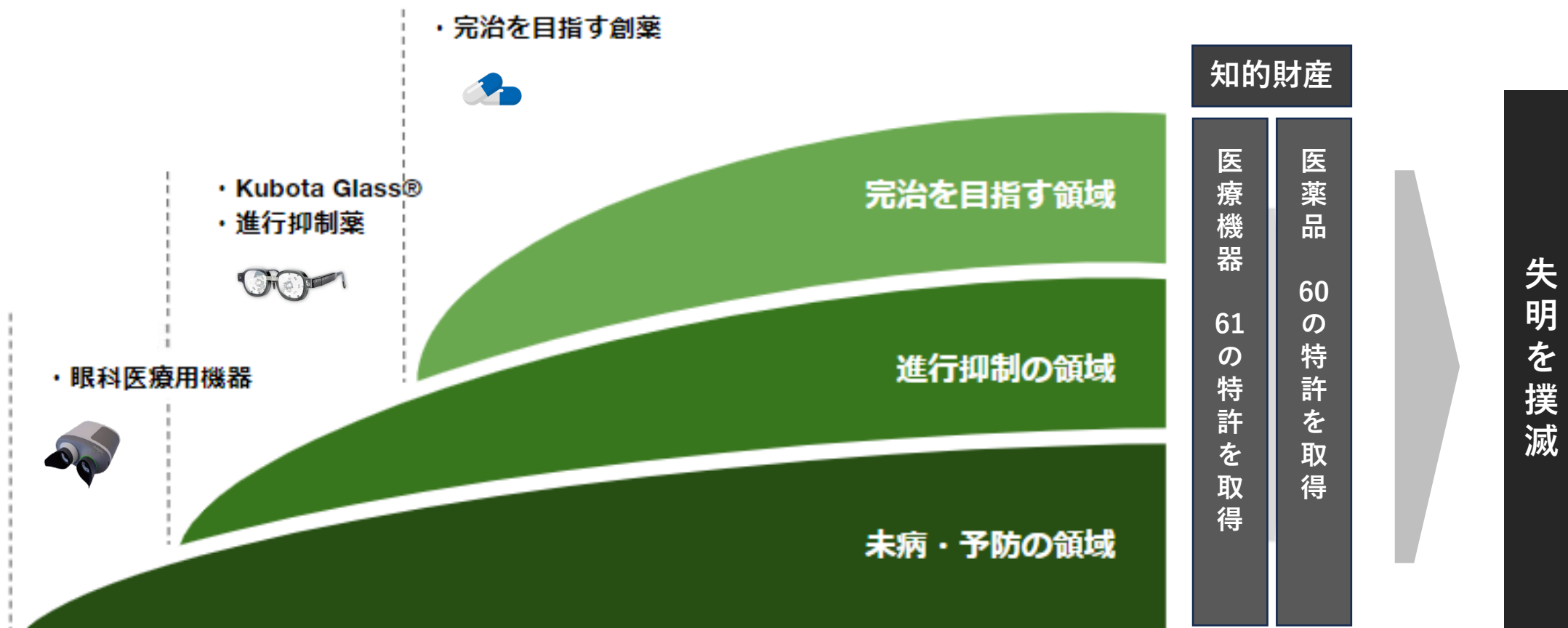
## ③ リスクおよび対応策

# 成長戦略とビジネスモデル

---

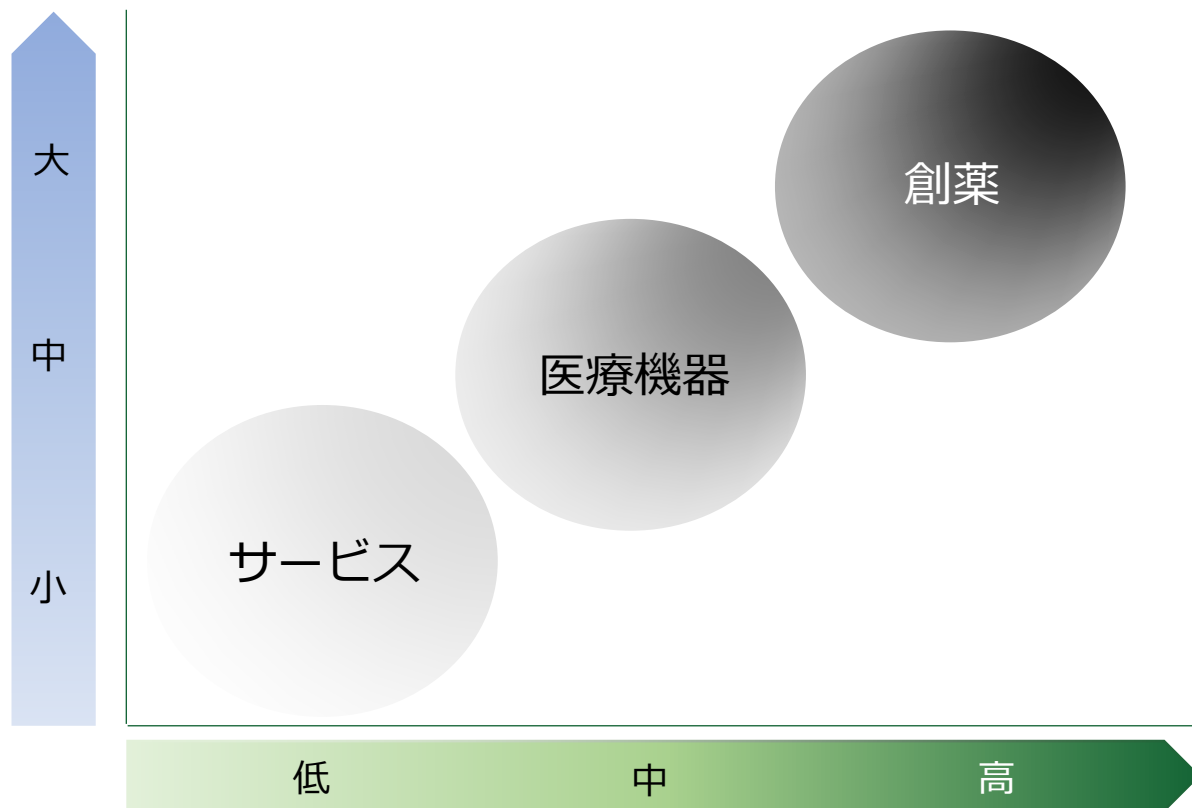
# ビジネスモデル

未病・予防の領域、進行抑制の領域、完治を目指す領域（創薬）の3領域に亘り、豊富な知的財産を活用し、医薬品と医療デバイスというリスク・リターン特性の異なる2つの事業ポートフォリオを組み合わせることで、事業の効率化、事業リスクの分散と企業価値増大に取り組む



# ビジネスモデル

リターン



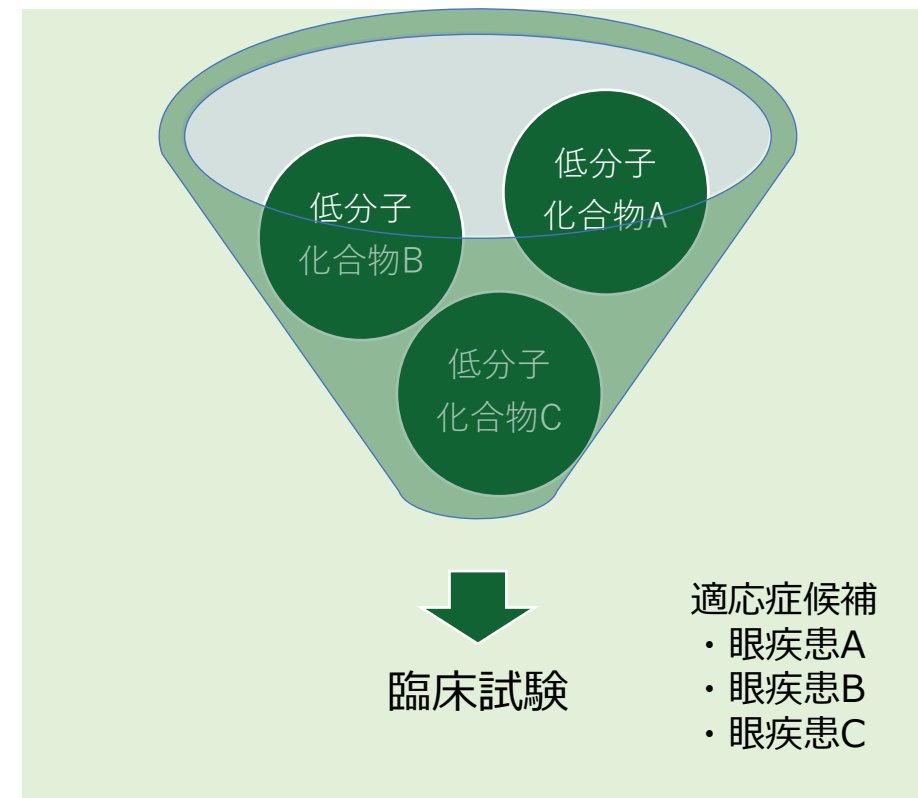
ハイリスク・ハイリターンの新薬開発のみではなく、様々なポートフォリオの事業基盤を同時に構築することで、長期的な企業成長を図る



# ビジネスモデル（医薬品）

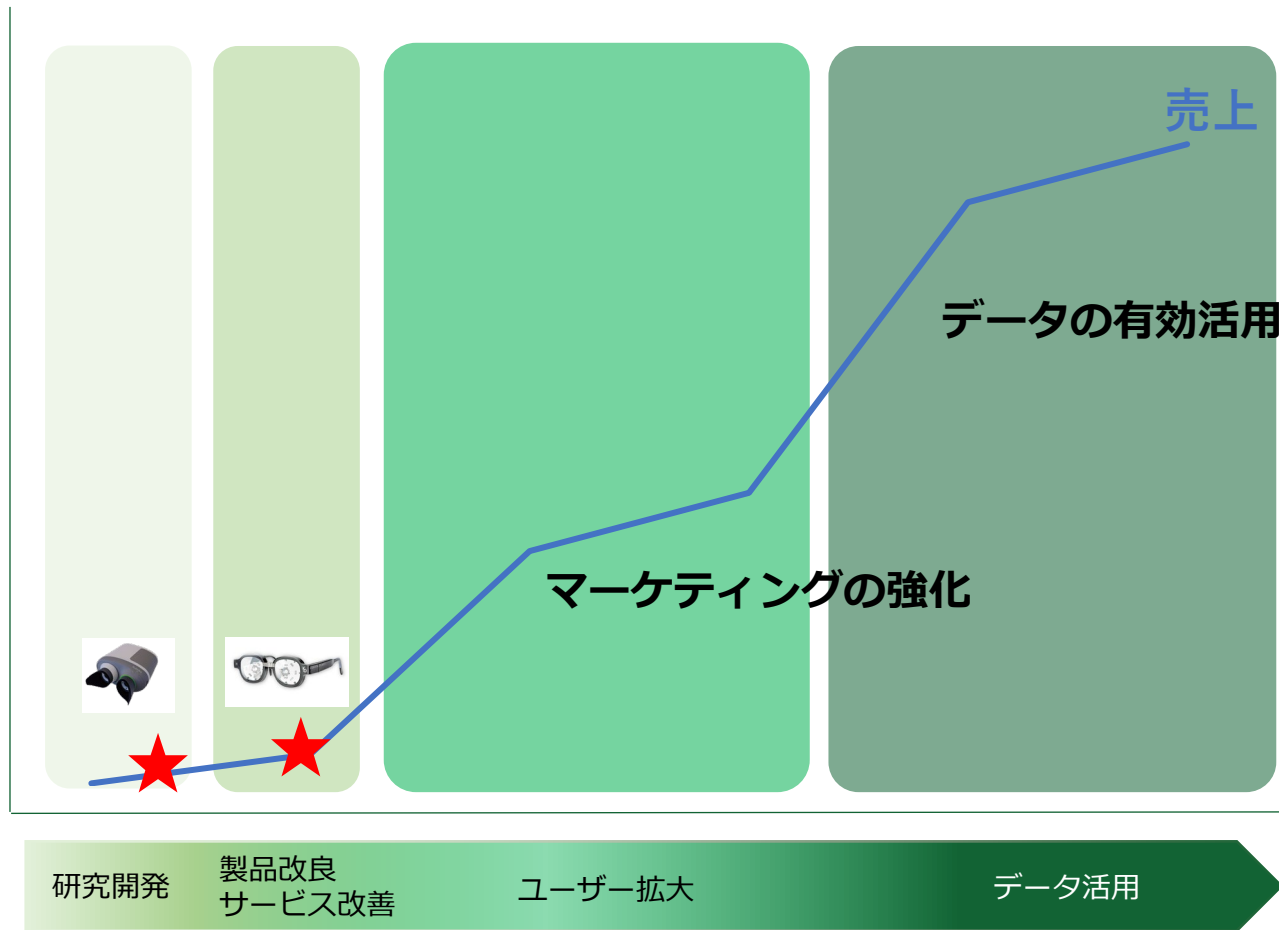


バーチャル且つグローバルな専門家チームを作ることによって、最小人数で研究から臨床研究、臨床試験までをスムーズに実行し、移行させることが可能に



これまで自社独自の化合物ライブラリを活かし、新薬開発へと繋げる

# ビジネスモデル（医療機器・サービス）



眼科医療のデジタル化を推進すべく、患者が日々自宅で使用できる医療機器を開発


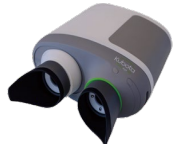
科学的エビデンスを積み上げること大前提としながらも、多くのユーザーに使用してもらえるよう製品やサービスの改良を進める

Kubota Glassについては、AR\*機器として販売を継続しつつ、エビデンスとしては最終的に医療機器として承認されることを目指す

またクボタメガネ・テクノロジーを他社製品に応用することでユーザーの拡大を図る

\*AR=Augmented Reality

# 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 eyeMO: 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

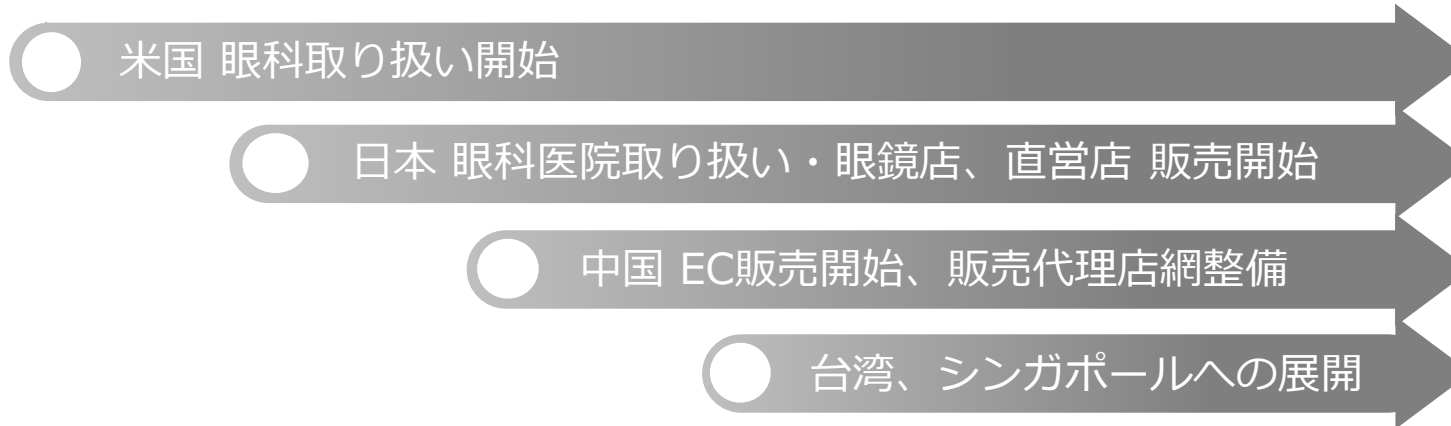
低分子化合物	適応症	前臨床	第1相	第2相	第3相	support
エミクススタト塩酸塩 	スターガルト病					FDA
	増殖糖尿病網膜症					

遺伝子治療を含めた早期研究段階にある医薬品、医療機器プロジェクトについては、当社グループのパイプラインチャートには掲載せず、適宜進展があり次第情報開示をいたします。

# 事業計画：クボタメガネ

独自の技術をもとに自社開発、生産体制の合理化を進め、商業化対象範囲を拡大

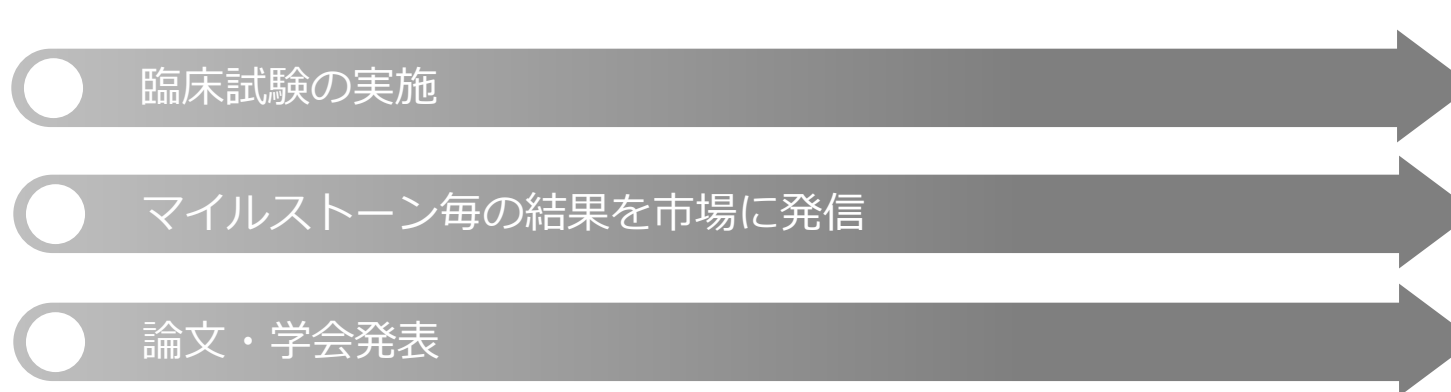
商業化



グローバル  
展開

科学的エビデンスを積み上げ、製品価値を向上

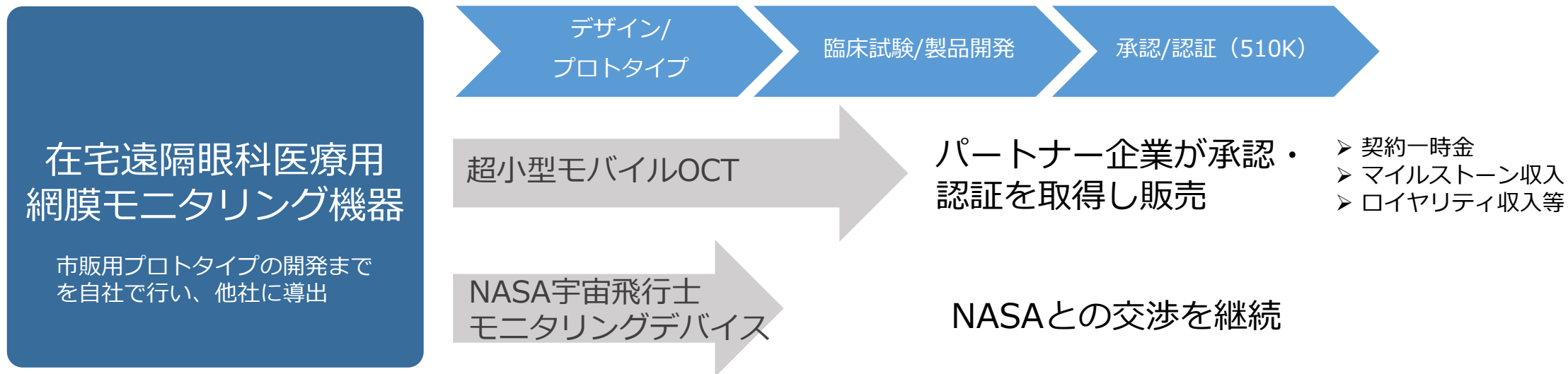
臨床試験  
・  
開発



医療・学術機関・  
パートナーとの  
アライアンス

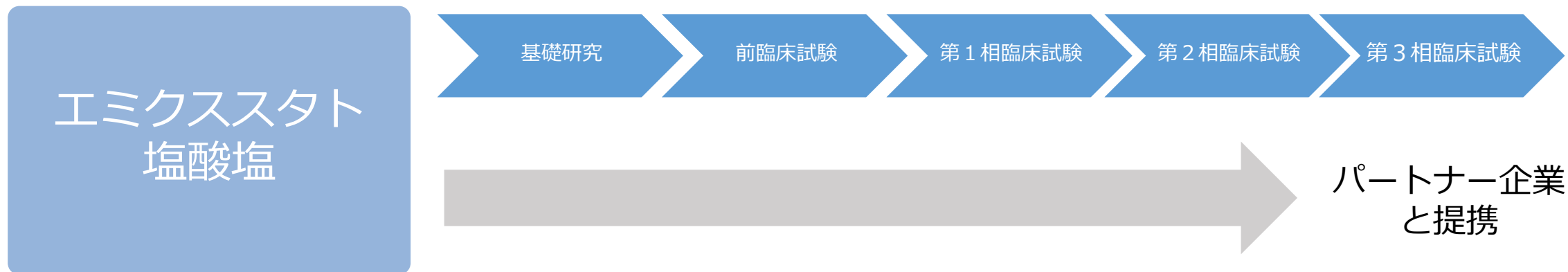
# 事業計画：在宅遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器

パートナー事業への導出を基本戦略とし交渉を進めていく



# 事業計画：エミクススタト塩酸塩

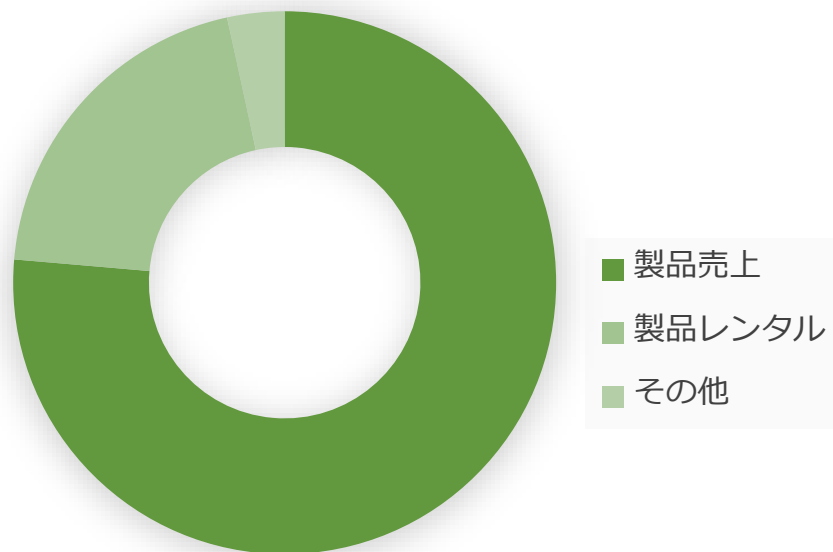
開発期間が長期にわたる医薬品については 開発品のリスク、開発費用・期間や、経営資源等を総合的に勘案し、企業価値が最大化するようパートナー企業への導出を目指す



# 収益構造

2024年度 通期決算（事業収益）

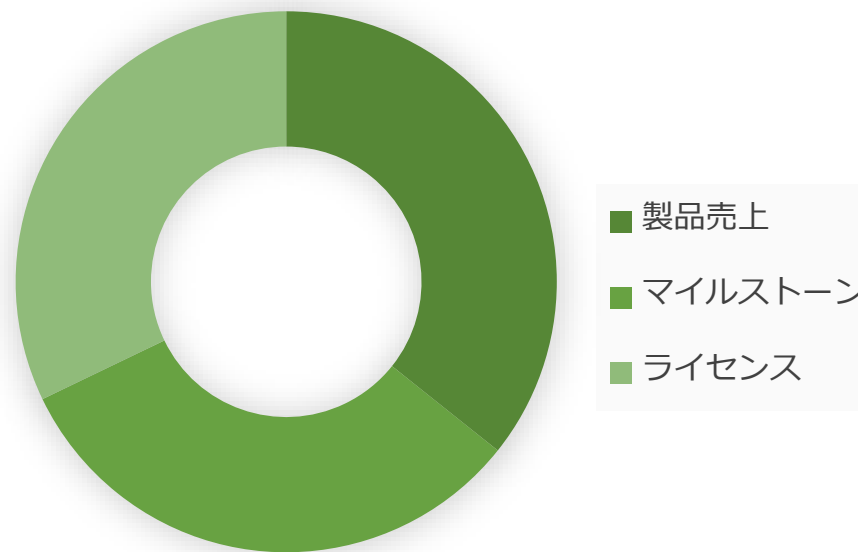
収益モデル



事業収益はKubota Glass®の販売が大部分を占める

将来的な収益構造

収益モデル



Kubota Glass®の販売を拡大しつつ各パイプラインでパートナー企業との提携を目指す

# 経営戦略と重要な経営指標

	2024	2025	2026	2027~
	→ 複数パイプラインの導出・商業化		← 既存パイプラインの育成・投資	← 次代の主要パイプラインの確立・投資
収入	新株予約権（第三者割当）による資金調達を継続 製品・サービス販売の売上 医療機器貸与の売上		製品・サービス販売による売上 既存パイプラインの商業化による収入 必要に応じ、新規資金調達により 現有資金を確保	導出品および市場化による収入
支出	<b>eyeMO(PBOS)</b> パートナー企業との共同開発 <b>近視メガネ</b> 米国・台湾での臨床試験 <b>エミクススタト塩酸塩</b> 早期承認を目指したプロダクト開発 パートナー企業との共同開発	<b>近視メガネ</b> 台湾・中国での臨床試験 販売マーケティング	<b>近視メガネ</b> 各国における臨床試験の継続 中国を中心とした販売マーケティング及びその他の国への展開	資金状況に応じ、 <b>新たなパイプラインの前臨床・臨床試験の開始</b> <b>医療機器事業で収集したバイタルデータ活用への新規投資</b> など



各パイプラインについて

---

# クボタメガネ

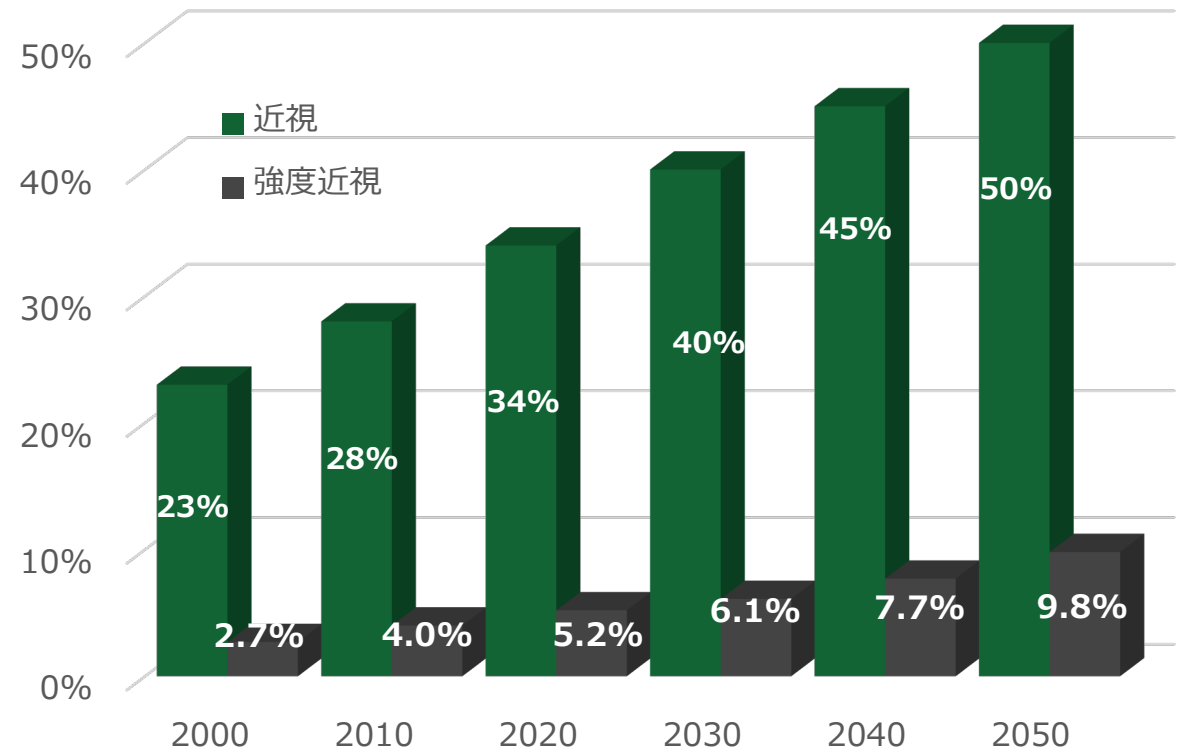
---



# 世界の近視人口動向

- 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 (WHO)
- 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ており、**10人に1人が失明のリスク**を抱える

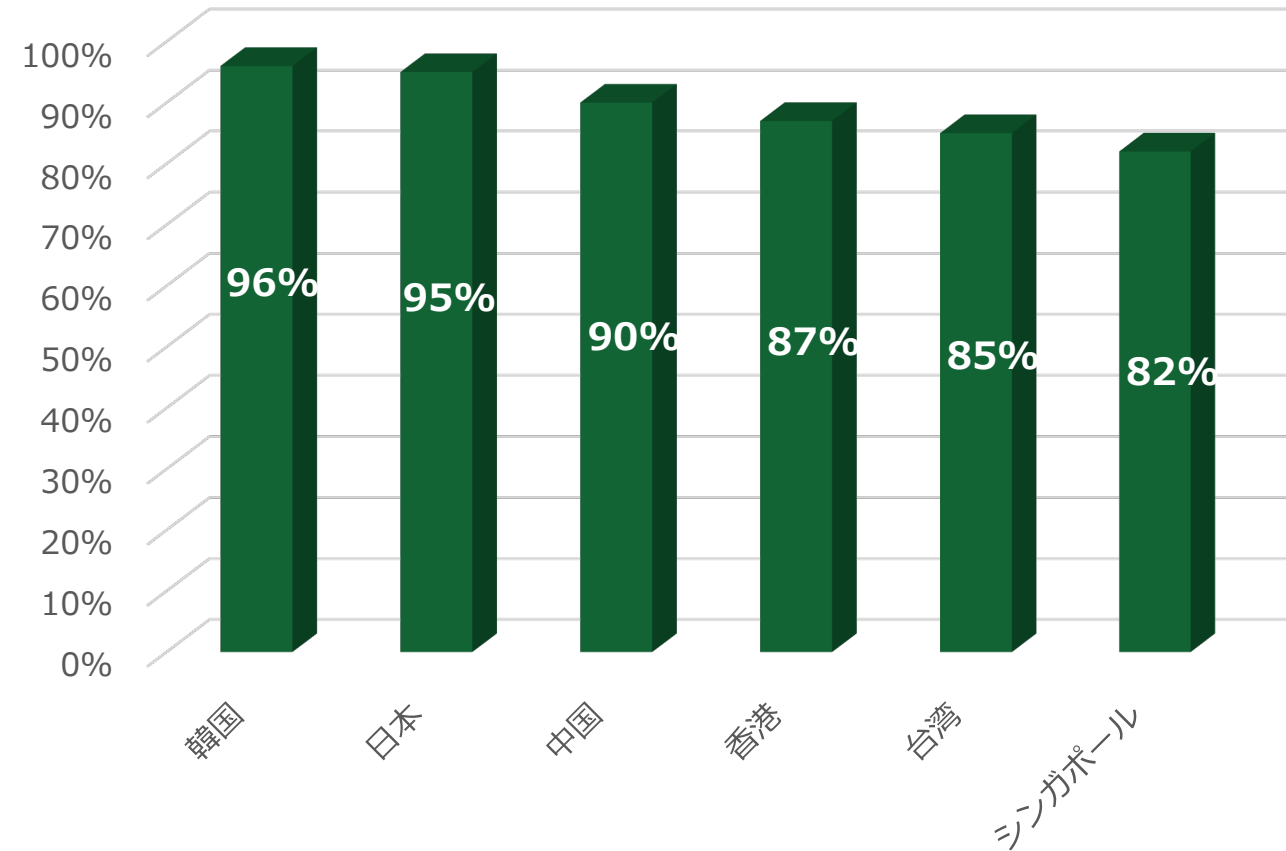
WHO 世界の近視人口



# 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

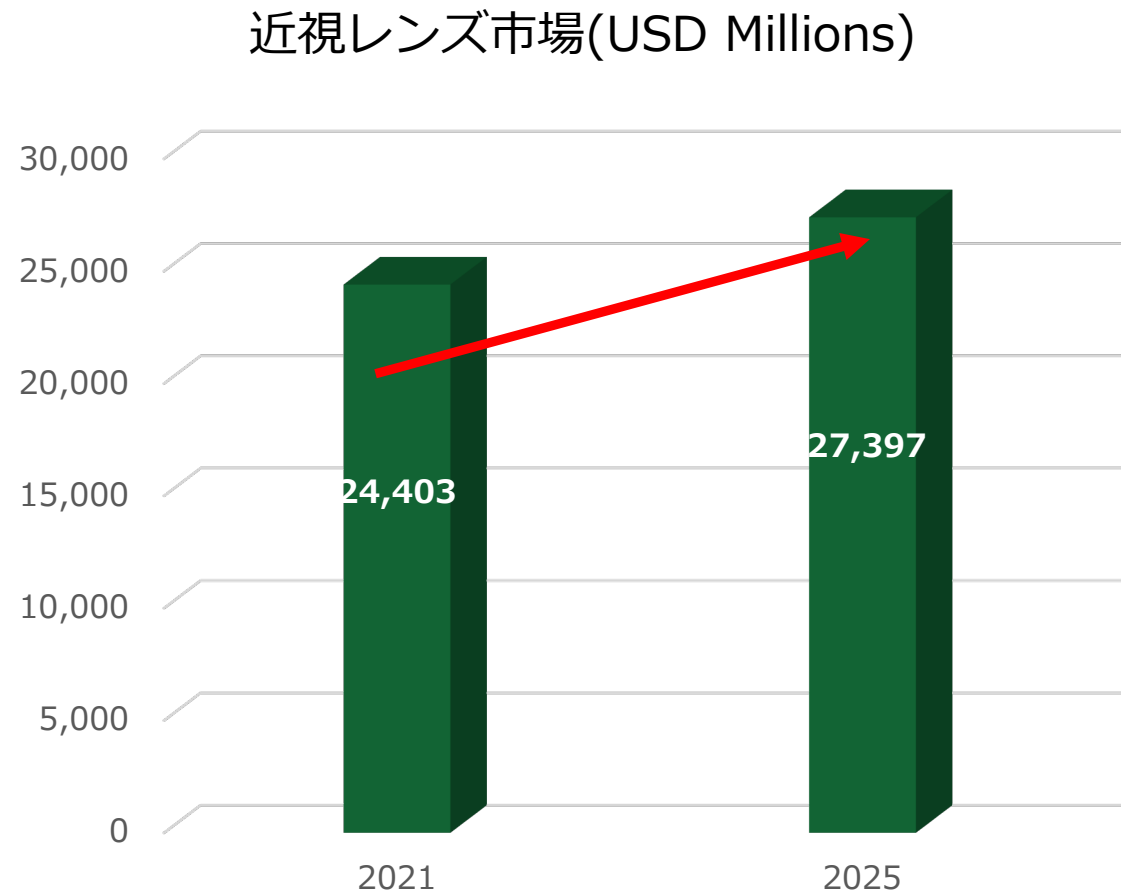
20歳以下の近視保有率



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.

# 世界の近視用レンズ市場

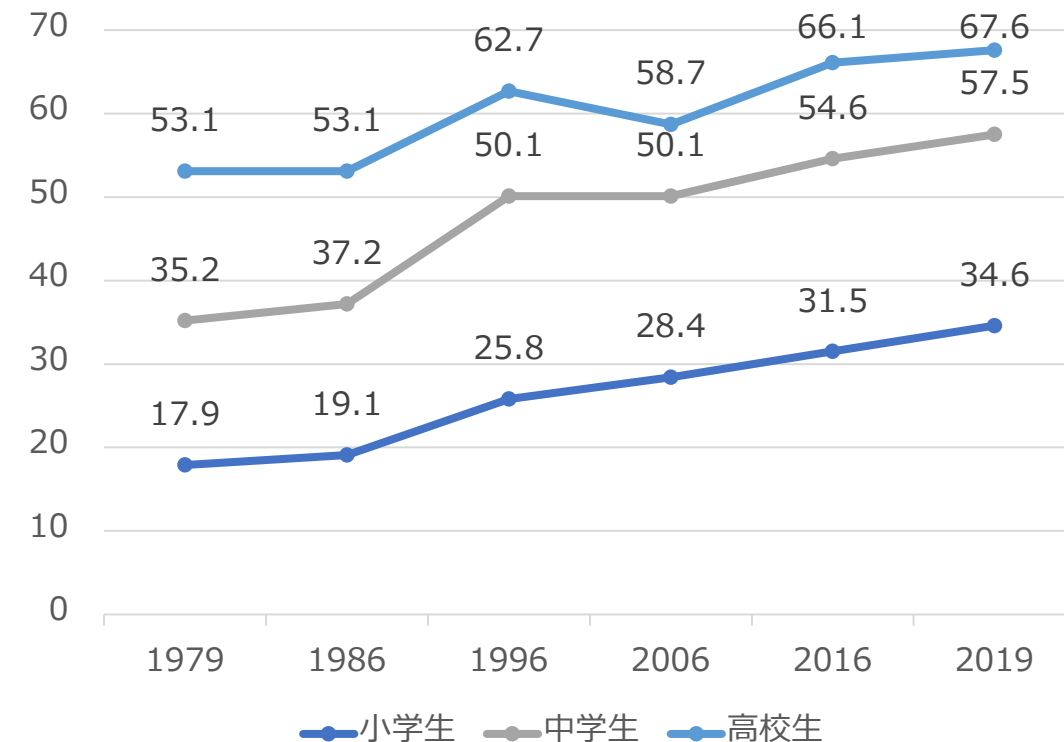
- 世界の近視用レンズ市場は、2025年には**270億米ドル**（約**3兆円**）に達する見込み



# 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
- また高学歴ほど眼軸が長い傾向\*3

裸眼視力1.0未満の割合の推移



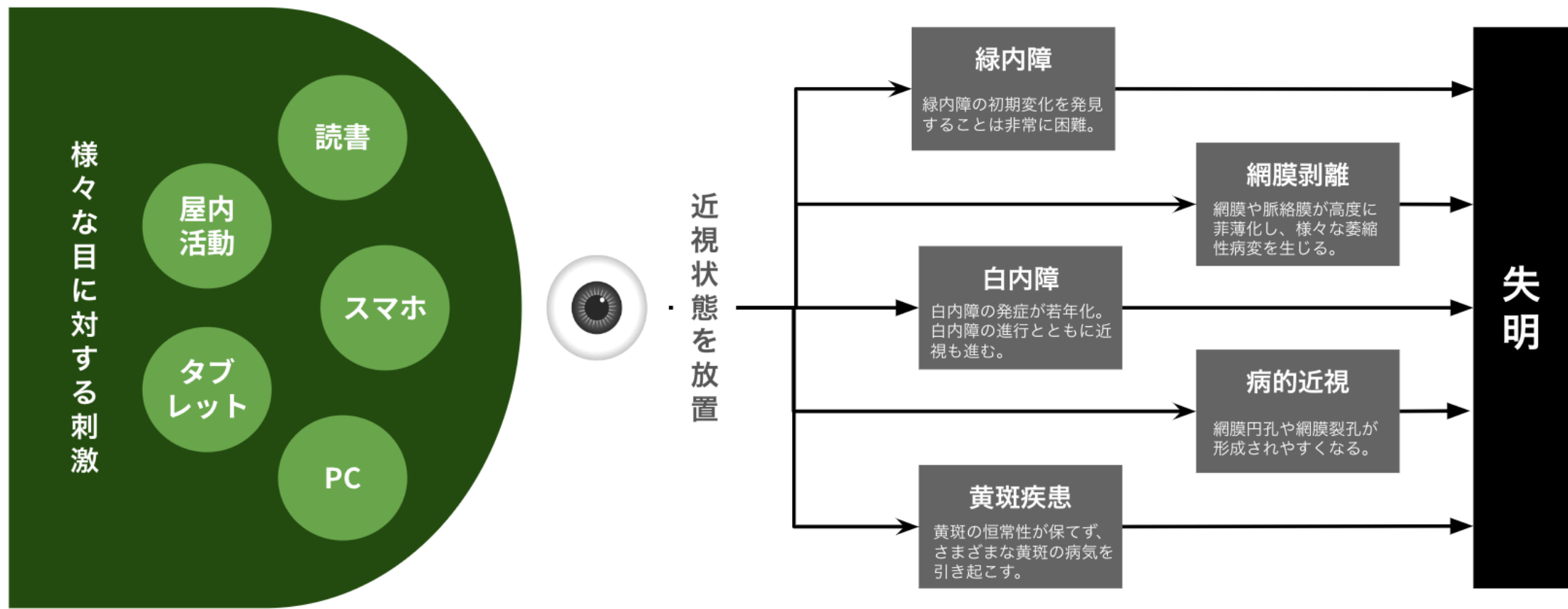
出典(\*1):令和2年度学校保健統計調査

(\*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.

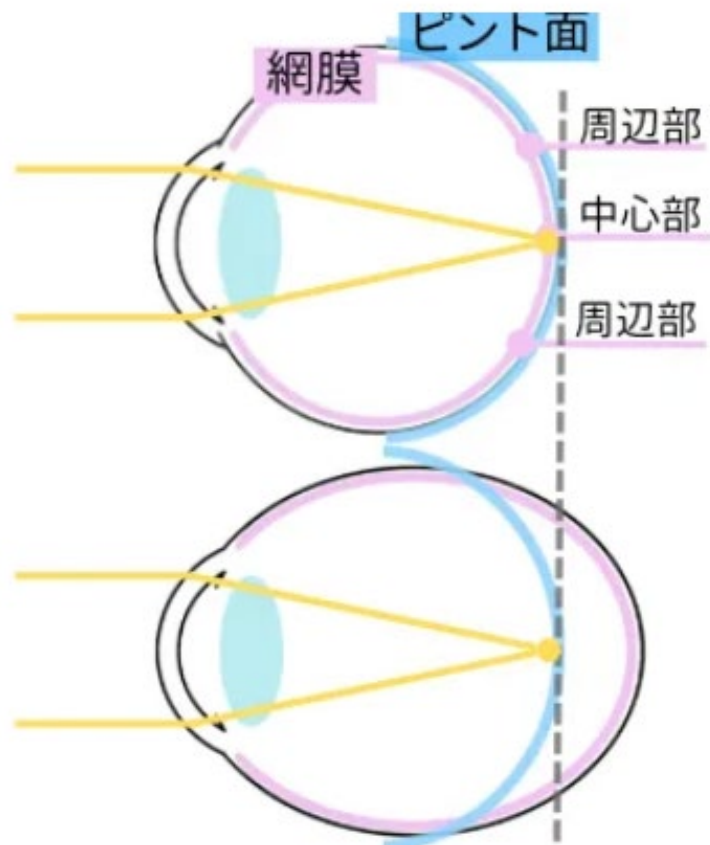
(\*3): Fuse N, et al, Genome-wide Association Study of Axial Length in Population-based Cohorts in Japan: The Tohoku Medical Megabank Organization Eye Study. Ophthalmology Science, 2022

# 近視のリスク

- 強度近視に伴いより**重篤な眼疾患の合併**も懸念される



# 近視・眼のメカニズム ①正視と軸性近視



図(上)：

正視とは、網膜上にピントが合っている状態を言います。

図(下)：

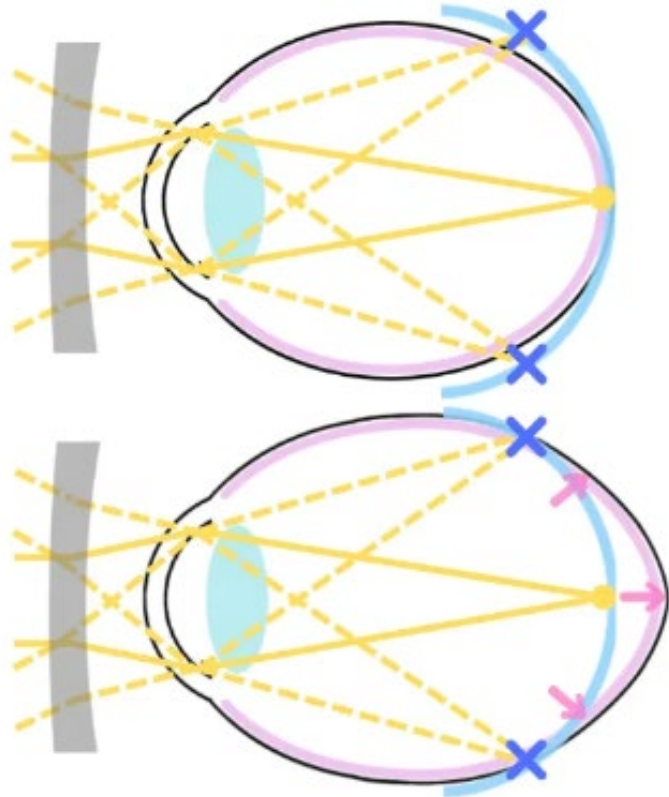
正視に対し、軸性近視は網膜が後ろに伸び、眼軸長が長くなることで網膜上にピントが合わなくなります。

網膜より手前にピントがあるため、遠くのものがぼやけて見えにくくなります。

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**屋外活動の減少**が問題視されています。



# 近視・眼のメカニズム ②軸性近視でメガネをかけた状態



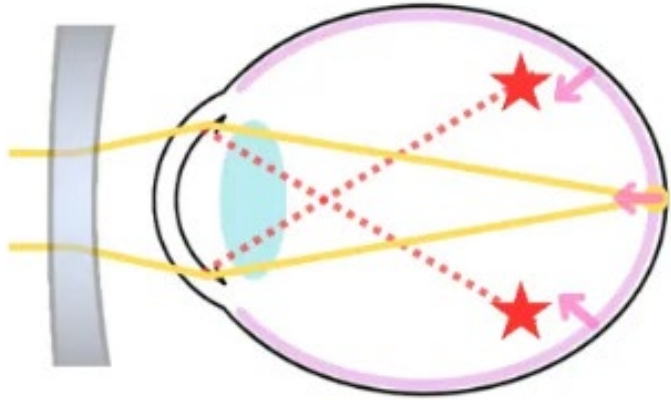
図(上)：

度の合うメガネを着用することで網膜中心部にピントを合わせることは出来ますが、ピント面の形は変わりません。そのため、網膜周辺部ではピントが後ろにはみ出ることになり、網膜は、この後ろにはみ出たピント「遠視性デフォーカス（遠視性のボケ）**X**」を追いかけ、更に後ろへと伸び続けます。

図(下)：

網膜が後ろに伸びると、そのままのメガネでは中心部のピントが合わなくなるため、更に度の強いメガネが必要になっていきます。これが近視進行の原因の一つです。

# 近視・眼のメカニズム ③クボタメガネの発想



クボタメガネは逆転の発想で、網膜より手前の位置に、映像「近視性デフォーカス（近視性のボケ）★」を映します。

網膜がこの映像を見ようと追いかける習性を利用し、網膜を前に引っ張り戻すこと、つまり、眼軸長を短くし、①の上の図のような正視の丸い眼球にすることを目指します。

# Kubota Glassのアプローチ

- AR技術を用いて近視性デフォーカスを再現し眼軸伸長を抑制し、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

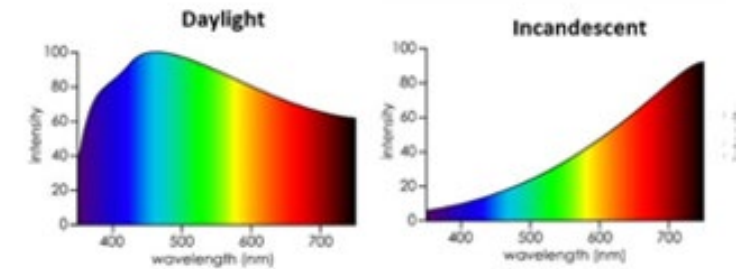
- 太陽光と同様の広いスペクトルでチューニングされた人工的な光を投影

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.

<自然光と白熱灯のスペクトルの違い>



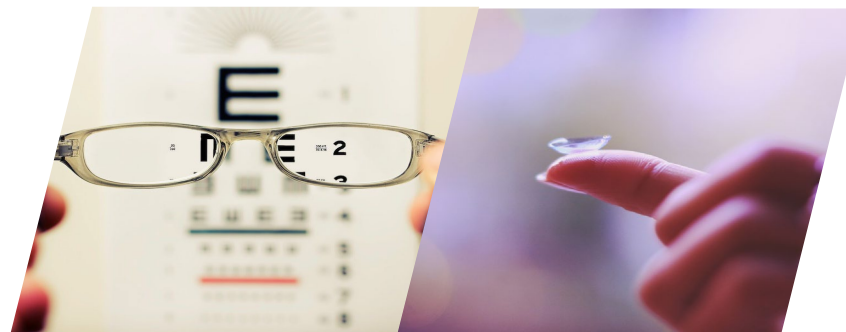
<販売中のKubota Glass>



# 近視の治療法で一般的な治療

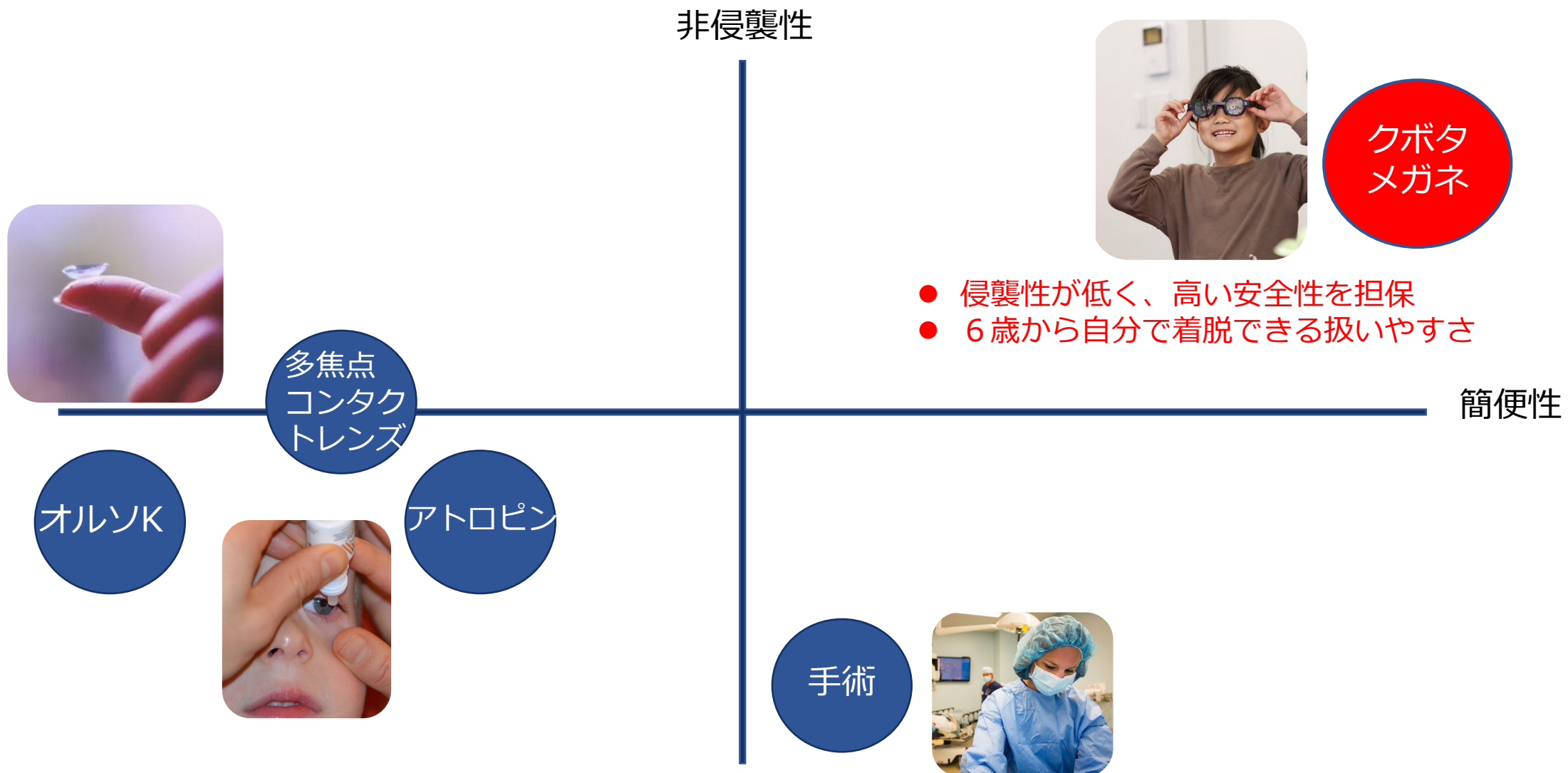
- 屈折矯正により、光の屈折を調整し、焦点を網膜に合わせるのが一般的
- 眼軸長を短縮させるような**根本的な治療法**はない

メガネ・コンタクトレンズ



手術（レーシック・ICL）

# 市場環境：ユーザビリティに関する市場優位性



# 他社製品との比較(製品の特徴)

能動的照射メカニズムであり、ウェアラブルであるのは、Kubota Glassのみ

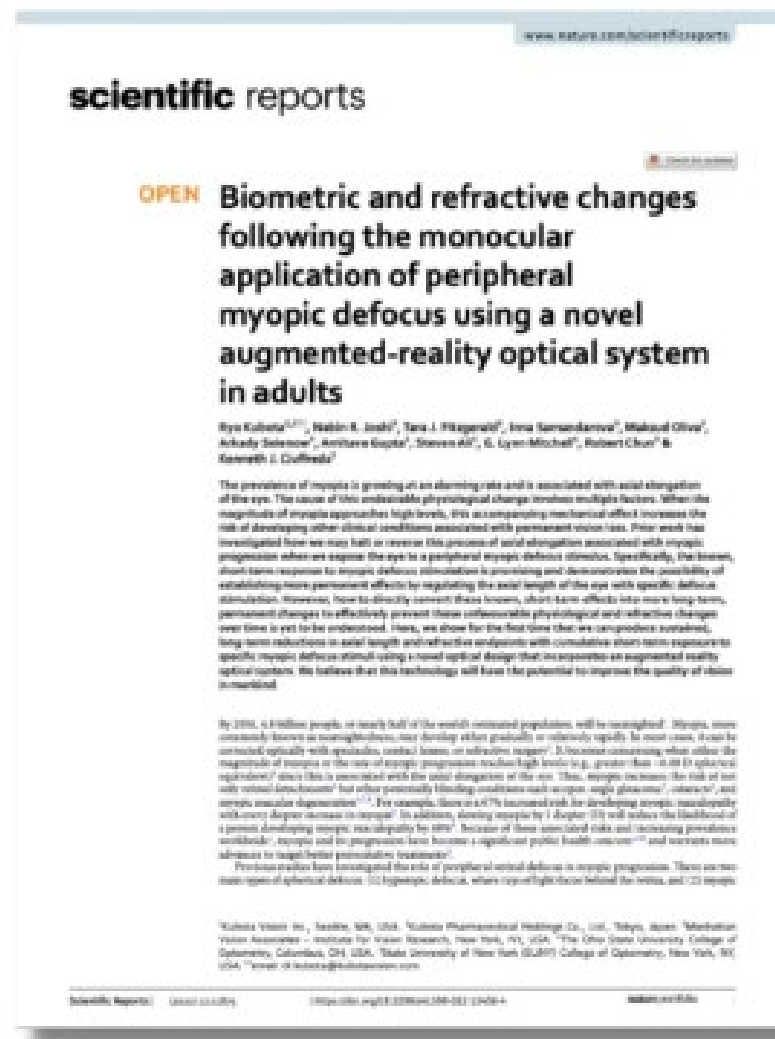
	Kubota Glass™	H社	E社	C社	S社	T社	治療法 A	治療法 B	治療法 C
作用メカニズム	能動的刺激: 照射による周辺部近視性デフォーカス	受動的刺激: 周辺部近視性デフォーカス	受動的刺激: 周辺部近視性デフォーカス	受動的刺激: 周辺部近視性デフォーカス	受動的刺激: 周辺部コントラスト低減	受動的刺激: バイオレットライト透過	能動的刺激: 赤色光を照射; (放射熱の可能性もあり)	不明	受動的刺激: 周辺部近視性デフォーカス
形態	メガネレンズ	メガネレンズ	メガネレンズ	ソフトコンタクトレンズ	メガネレンズ	メガネレンズ	卓上デバイス	点眼薬	ハードコンタクトレンズ
中央クリアゾーン	9.0mm	9.4mm	9.0mm	3.36mm (角膜面)	競合相手のレポートによると、およそ9.0mm	N/A	N/A	N/A	多様
デフォーカス度	+5.00D	+3.50D	+3.50D (軸方向: 高非球面レンズレット (HAL) 設計では、接線は最大 +20.00D )	+2.00D	N/A	N/A	N/A	N/A	多様
装着時間	1.5~2 時間/ 1日 6 日/1週間	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	"常時着用"	1日2回 3分間 づつ 5日/週	N/A	就寝時

# 近視抑制の新たな可能性 – クボタメガネの研究成果

世界的に権威あるNature 社が発行している Scientific Reports誌にクボタメガネの臨床試験の結果が掲載されています。

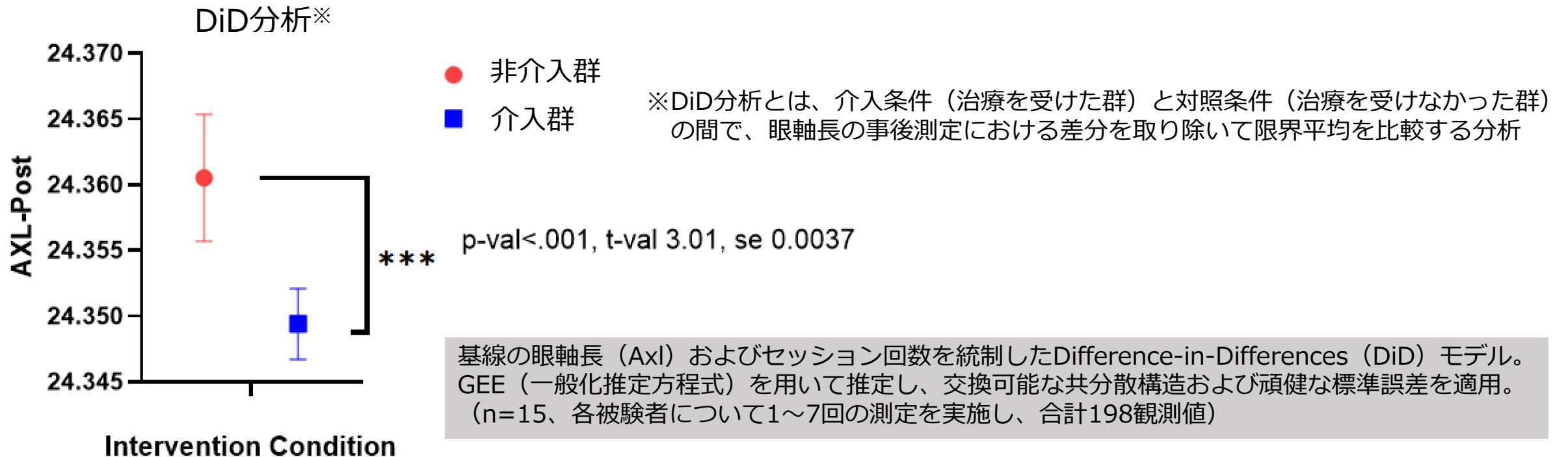
本来子供に比べて効果が出にくい成人において、年間換算で、近視の抑制効果は0.816D（ジオプター）・眼軸長に対しての影響は72 $\mu$ m(マイクロメートル)の改善という結果が得られました。

(2022年7月の掲載以降、すべての研究成果論文の中で閲覧数が上位5%にランクインしています。)



# クボタメガネ 米国での眼球刺激一過性臨床試験の結果

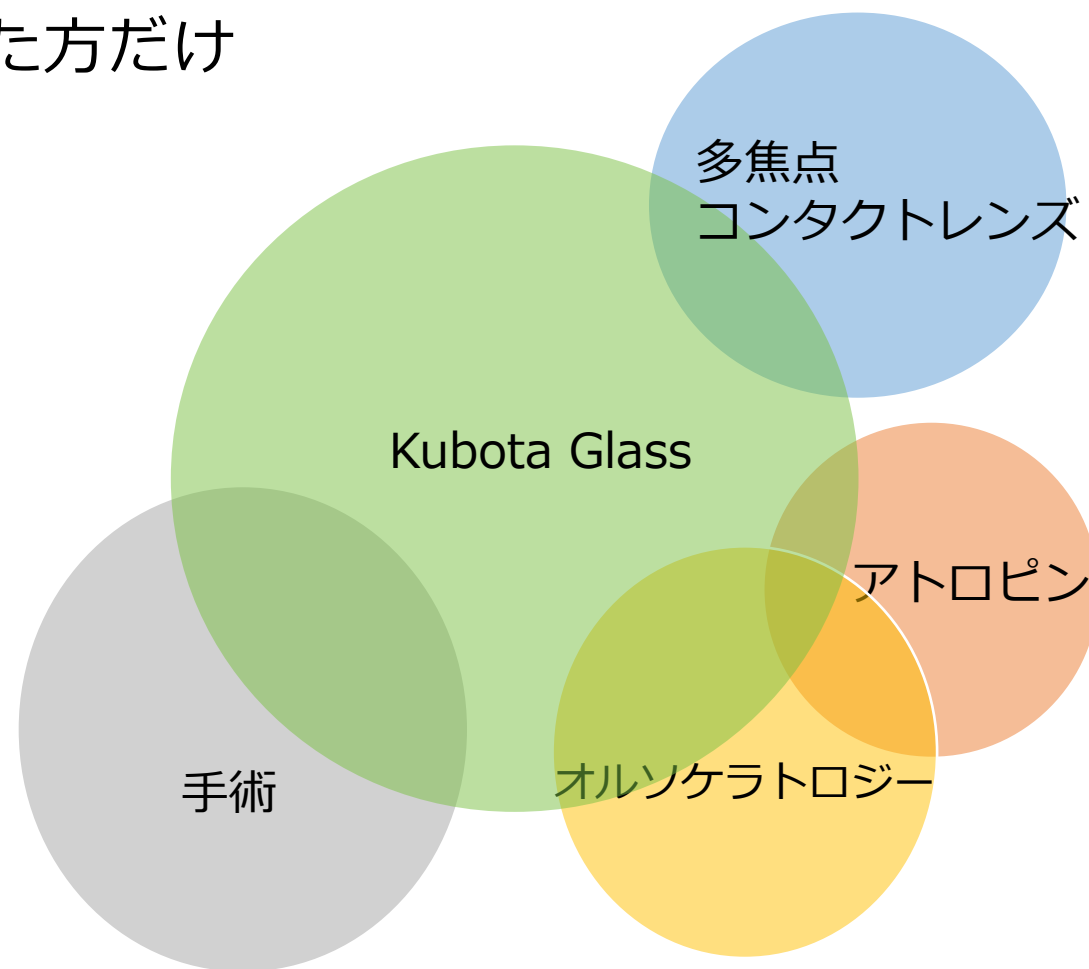
- 昨年の夏以降の米国での臨床試験において、クボタメガネを2時間使用することで、統計学的に有意な一過性の変化を観測
- その結果、クボタメガネテクノロジーで使用されている照射やデフォーカスを最適化することで、近視進行を抑制できる可能性が示唆された。今後は、長期臨床試験を実施し、その有効性および実用性を評価する予定である





# 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**



# Kubota Glassの販売拡大計画振り返り①

## ● 日本国内販売について

### 前回、公開した方針

- 引き続き、野外活動を再現する映像機器として販売を継続
- Kubota Glass®を販売していない国でのEC経由の購入およびインバウンド需要も狙いつつ、代理店を拡大していく

振り返り

- 野外活動を再現する映像機器として継続販売中
- 海外販路構築を優先したため、代理店拡大等は保留

## ● 製品の基礎力について

### 前回、公開した方針

- 長期試験など臨床試験を継続し、データの蓄積を行う

振り返り

- 米国における一過性試験での効果検証を実施
- 台湾における長期臨床試験を継続中

## ● 海外販売について

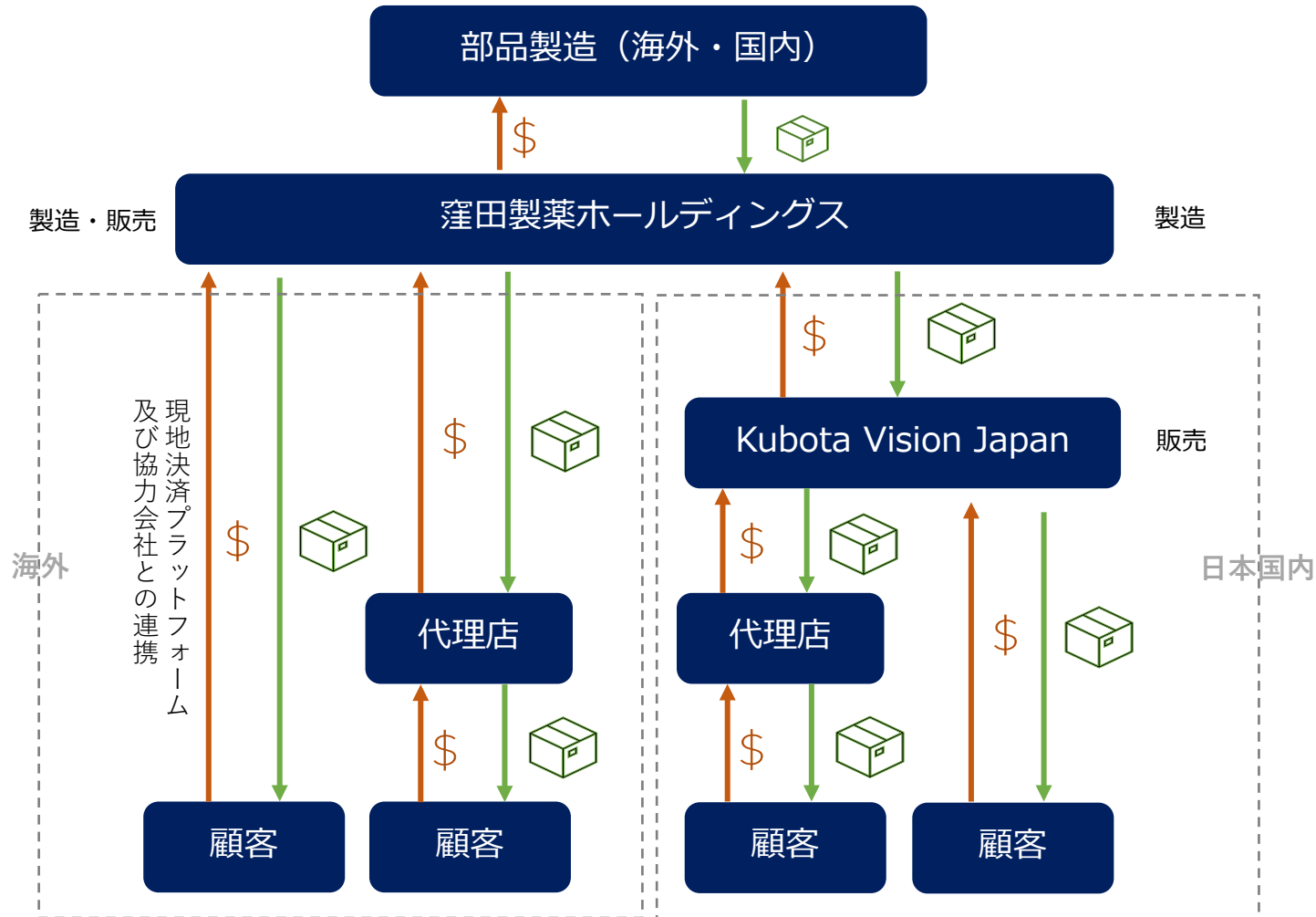
### 前回、公開した方針

- まずは需要の多い中国での販売強化を目指す
- その他、諸外国の規制を考慮しつつ、早期販売可能と考えられる日本での販売モデルを応用することを検討

振り返り

- 重点国として中国にフォーカス
  - EC販売環境構築は完了
  - 展示会等を通じた販売店/取扱店の営業進行中

# Kubota Glassの販売



- 製造は、窪田製薬ホールディングスが行う
- 日本国内は製品をKubota Vision Japanが窪田製薬ホールディングスから仕入れて販売業務を行う
- 販売経路は、代理店経由もしくは直販
- 完全受注販売のため、注文情報、入金を確認出来次第、海外工場に発送
- 商品発送は注文から1ヶ月程度
- 納品後のアフターサポートについては当社のカスタマーサポートが一貫して行う
- 製品には1年保証がついており、初期不良については当社が対応をする
- 代理店へは、毎月納品数を確認し、月末締め翌月払いで製品代金を請求する

\*Kubota vision Japanは、2016年2月に当社の100%子会社として設立後、休眠中であった株式会社窪田オフサルミクスを2023年に商号変更したものです。2024年よりKubota Glassの販売業務をおこなっています。

# Kubota Glassの販売拡大に向けて -海外-

## 基本方針：

国策として近視抑制に取り組んでいる、中国・台湾・シンガポールにフォーカスして販売拡大を推進する

### ● 中国：

- 中国最大のECモール、Taobaoに直営ストアを開設（2025年1月6日）
- アジア最大規模の中国国際Optical Fairに出展（2025年2月20日～22日）
- 販売代理店希望の複数社と契約交渉中
- 中国教育部(日本の文科省) と5～6施設での臨床試験計画を協議中
- 中国のSNS、REDを使ったプロモ動画配信を開始（2025年3月～同年12月:54本）

### ● 台湾、シンガポール：

- 台湾の中国医薬大学新竹附設医院との長期臨床試験を継続し、近視抑制効果を検証
- 台湾、シンガポールにおける販売代理店候補先のリストアップを完了（2025年3月5日）
- 現地エージェントを活用し、候補先へのアプローチを開始



# Kubota Glassの販売拡大に向けて -国内-

## 基本方針：

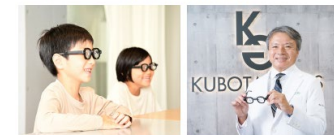
市場の啓発を行いながら需要を最大限掘り起こし、販売台数を伸展させる

### ● 日本：

- 近視啓発+クボタグラスにフォーカスしたSNS（Instagram, X）動画配信開始（2025年2月28日～）
- META広告動画の配信・運用（2025年4月～7月）
- 富裕層(都内約6万戸)向け雑誌媒体への広告掲載（2025年4月～9月）
- 蔦屋家電+（二子玉川）ショールームへの展示、ワークショップ開催（2025年3月22日～同年5月21）
- 新規取り扱い眼鏡店の拡大推進（主要都市をターゲット）



遠くを見ようとする映像事業を作り出すAR眼鏡「Kubota Glass」で目の外遊びを



世界的な原料産である、窪田 貞博氏が研究を重ねて開発

### はじめよう、目の“新習慣” 「Kubota Glass」で目の外遊び習慣

2022年度の「学校保健統計調査」では、視力が1.0未満の子どもの過去最多になったことが報告されました。近視が進めば進むほど、緑内障、白内障、網膜剥離や網膜静脈瘤などのリスクが高まります。屋外環境で1日2時間程度過ごした子どもは、近視になりにくいことが分かっています。現代の生活は、デジタルコンテンツの普及により、屋内での遊びが充実し、子どもの屋外活動は年々減少しています。[Kubota Glass]は、AR（拡張現実）を用いて、遠くを見ている環境や自然光独特の波長、明るさなどの要素を取り入れることで、目の外遊びを実現します。南青山の直営店ほか、メガネ販売店にて取扱中。詳細はHPへ。



Kubota Glass Store 南青山店  
03-6550-8947 | 東京都港区南青山-15-37 | 南青山一丁目駅より徒歩7分 | 営業時間: 11:00-17:00 | 完全予約制 | 休: 日曜日、日曜日  
#KUBOTAGLASS



# Kubota Glass 今後の展開

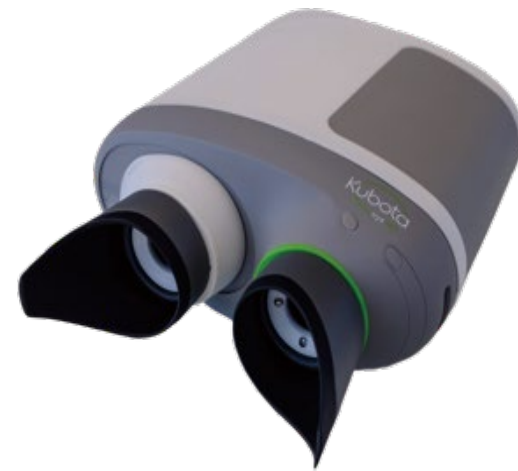
---

- **販売地域の拡大：**
  - インド、カナダ、韓国 など
- **科学的エビデンスの増強：**
  - 医療／学術機関との協業による臨床試験の増加、論文化、学会等での発表
  - 販売代理提携先との協業による店舗ベースのデータ取得
- **商品価値の増大：**
  - ユーザビリティの向上
  - アプリ連携 など
- **コスト競争力の強化：**
  - 製品設計の見直し
  - 更なる生産体制合理化

# eyeMO

---

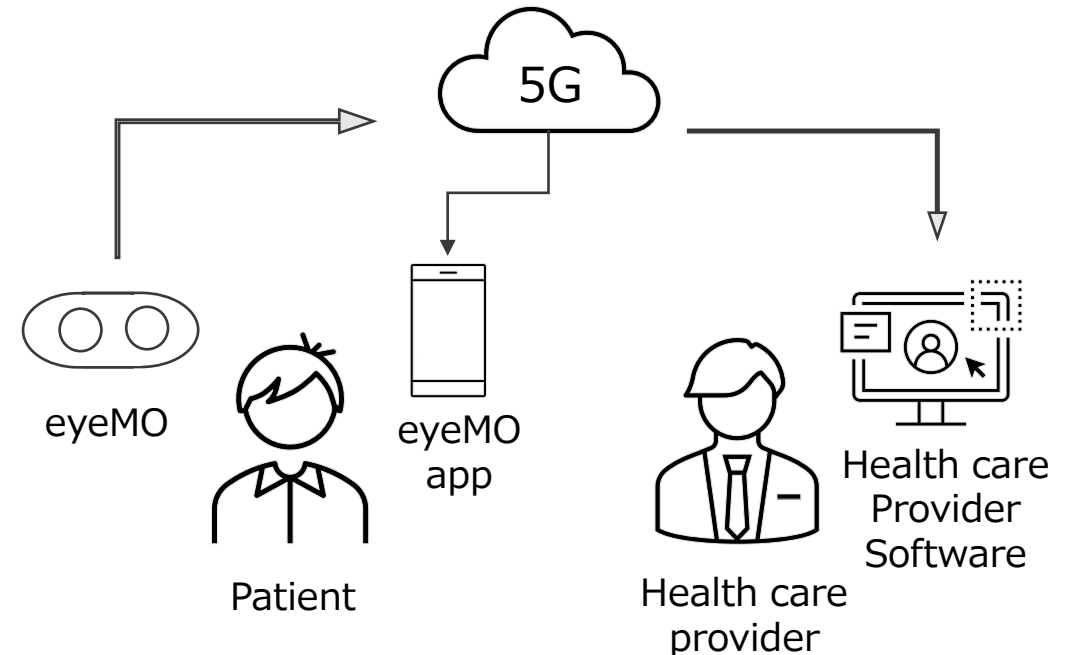
在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器  
Patient Based Ophthalmology Suite



# eyeMO開発の目指す未来

- 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

<モニタリングモデル>

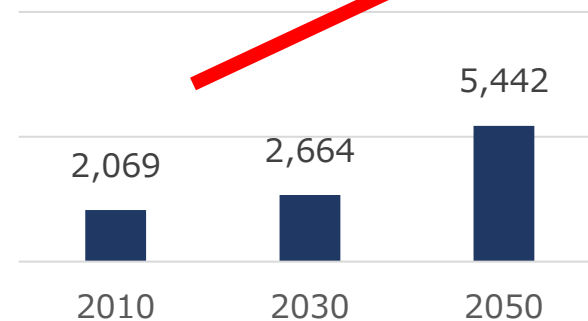




# 想定ユーザーの疾患加齢黄斑変性（AMD）

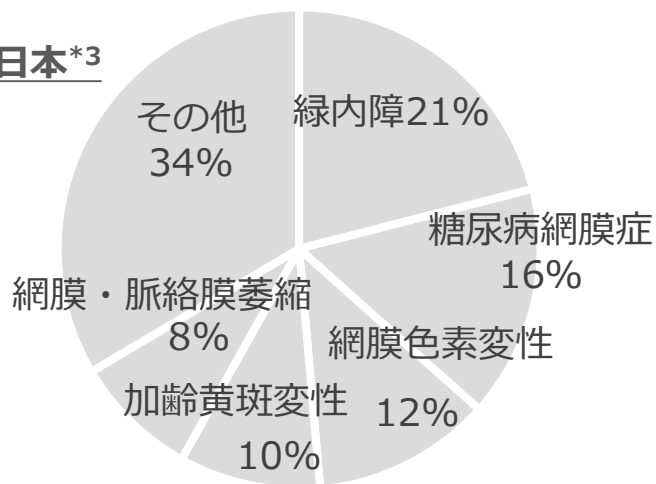
- 加齢黄斑変性（AMD）をはじめとする血管新生を伴う網膜疾患は、**主要な失明原因**となっている
- 高齢化とともに増加し、**欧米では50歳以上の人の失明原因の一位**と言われている\*1
- 米国のAMD患者数は、2050年には約5.4百万人に達する見通し\*2

米国のAMD患者数予測（千人）

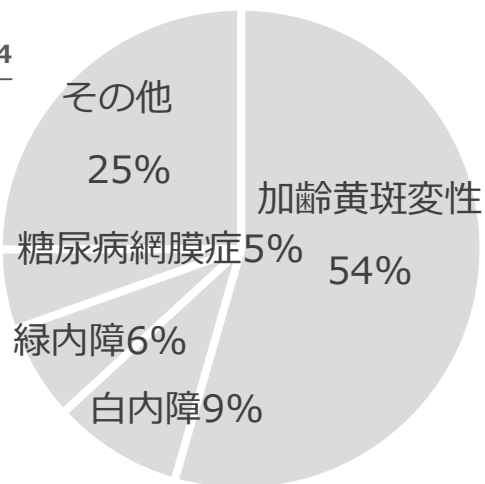


## 失明の主要原因<日本、米国、欧州>

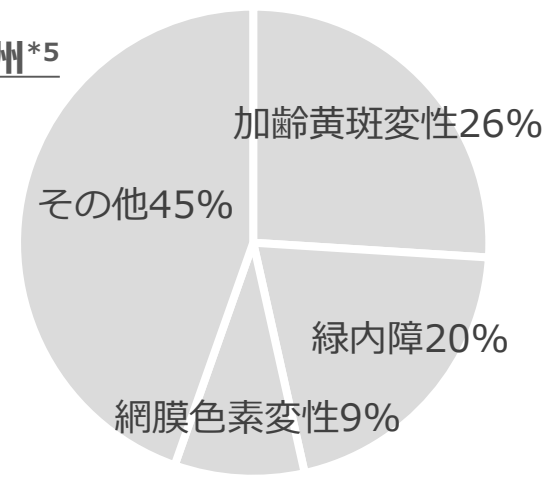
日本\*3



米国\*4



欧州\*5



出典：

\*1 Market Scope, The Global Retinal Pharmaceuticals & Biologic Market, 2015 \*2 US National Eye Institute, 2019

\*3 厚生労働省 難治性疾患等克服研究事業「網膜脈絡膜・視神経萎縮症に関する調査研究 平成25(2013)年度」報告書

\*4 Nathan C. et al. Causes and Prevalence of Visual Impairment Among Adults in the United States. Arch Ophthalmol.122 (2004) 米国は、白人データを使用

\*5 Kocur I, Resnikoff S: Visual Impairment and blindness in Europe and their prevention. British Journal of Ophthalmology 86, 716-722 (2002)

# 四方良しの仕組み

## ● 米国における在宅遠隔眼科医療



### 患者

- 診断・治療費/交通費の削減ができる
- 常に自分の目の状態がわかる
- 最適な治療を受けることができる
- 医師が不足している地域でも受診ができる



### 医者

- 多くの患者をモニタリングすることができる
- 治療が必要な患者に時間を割くことができる
- 効率的な売り上げに繋がる



### 保険医療費負担者

- 医療費の削減
- 最先端医療を提供することができる



### 製薬会社

- 販売機会の喪失の軽減に繋がる
- 効果の証明

- 在宅OCTという新市場にすでに**参入している企業はまだない**
- 在宅OCTを開発中の企業のうち、実際にデバイスを開発済の企業は、Notal Vision社など数社のみとみられている
- 米国では、在宅OCT活用推進に向け被保険者が医療費の還付を受けるために必要なCPTコードが **在宅OCT用にも承認・確立されている**(2020年7月)

# eyeMO開発のステータス

---

- 米国での臨床試験（2023年1月～）
  - ハーバード大学医学部附属 ジョスリン糖尿病センターにて実施
  - 糖尿病網膜症スクリーニング装置の実用性評価市販
  - OCT装置との比較試験
- 国内での特定臨床研究（2024年5月7日開示）
  - 信州大学医学部附属病院にて進行中
  - 患者自宅でのモニタリング 可能性を検討
- 今後の展開
  - 実用モデルの検証を継続
  - パートナー企業との共同開発・商業化を模索

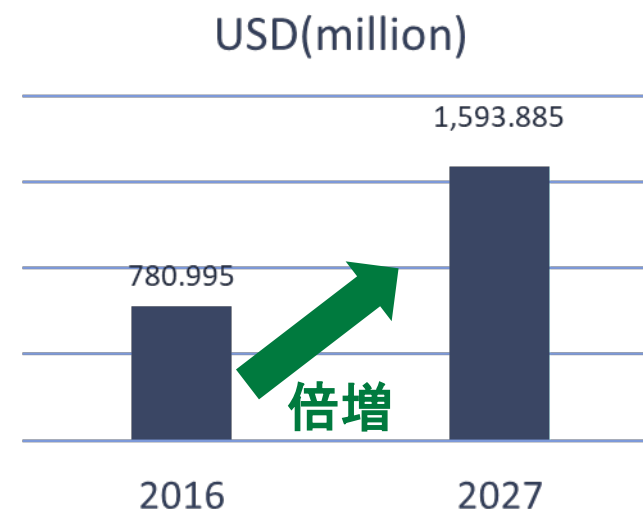
エミクススタト塩酸塩

---



# 想定市場規模

- 日本、米国、欧州で15万人弱<sup>\*1</sup>の患者がいると推定
- 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<sup>\*2</sup>
- オーフアンドラッグは、市場を問わず高い薬価が付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

\*出典:

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

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

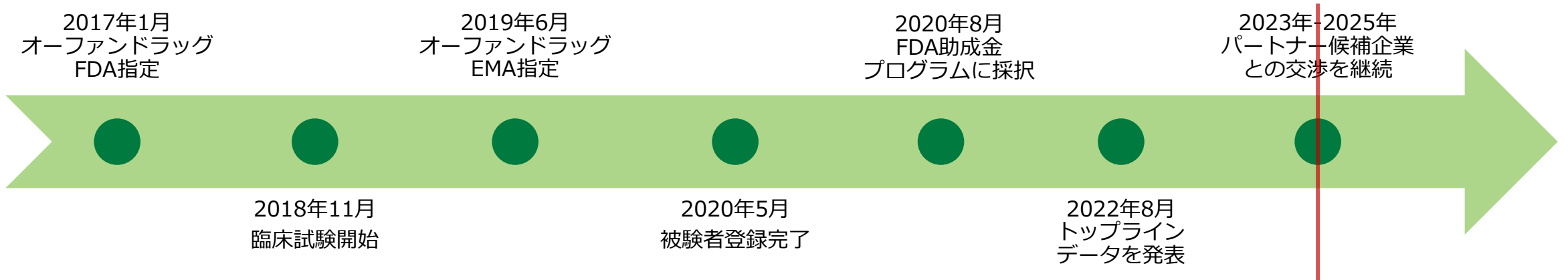
# 特徴

---

- 当社のエミクススタト塩酸塩は米国およびEUでオーファンドラッグ指定を受けており、上市に際して各種の優遇措置を受けられる
- FDA助成金プログラム(Orphan Products Clinical Trials Grants Program)に採択されている
- 視覚サイクル中の重要な酵素を選択的に阻害することで、スターガルト病の原因とされる有害代謝産物を減らす効果があり、本疾患の抑制が期待される
- 経口摂取が可能で、眼内注射不要
- スターガルト病のP2治験以上の開発ステージに挙げられる開発候補品は、2022年6月時点の調査では10候補品が報告されている

# エミクススタト塩酸塩 開発ステータス

- 上市に向けた早期承認制度の利用を最大限に活用
- 解析データをもとにパートナー企業との提携交渉を継続



- 無作為化、プラセボ対照、二重盲検比較試験の結果、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
- 一方、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**  
( $p=0.0206$ 、エミクススタト投与群 $n=34$ 、プラセボ群  $n=21$ )

# リスクおよび対応策

---



# 認識するリスクと対応策 -1/2

関連分野	リスクの内容	発生可能性と想定される影響	対応策
<p>研究開発</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 研究開発のプロセスにおいて、医薬品候補物質や医療機器の有効性や安全性が、所轄官庁の承認要件を満たさないリスクがあります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当該製品の開発を中止せざるを得ない、または開発・臨床試験期間の延長を余儀なくされる可能性は常にあり、その場合、上市および投資回収が遅れ、パイプライン価値毀損により期待した成長を達成できない可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 社外パートナー等との連携による研究パイプラインの拡充、研究開発ステージの異なるプロジェクトを組み合わせたパイプライン多様化により、開発中止による事業計画への影響を抑え、研究開発リスクの低減を図っています。</li> </ul>
<p>副作用 (製造物責任)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 臨床試験における予期せぬ副作用が確認されるリスクがあり、また将来的には、当社製品の上市後に副作用が確認されるリスクもあります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 臨床試験中の製品の場合、試験の中止や開発計画の見直し、製造物責任を負う可能性があります。</li> <li>■ 上市後の製品の場合、販売中止・回収を余儀なくされる可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 臨床試験中に安全性情報を常にモニターし、リスクが確認された場合には直ちに投薬中止・低減などの対応を行うことで、リスクの回避と影響の低減に努めています。</li> <li>■ 同時に、利用者・被験者への十分なリスク開示を行い、さらに生産物賠償責任保険にも加入しています。</li> </ul>
<p>知的財産権</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社が出願した特許権が取得に至らない、特許範囲が見込みより狭くなるなどのリスクがあります。</li> <li>■ 一方で、当社による第三者の知的財産権を侵害するリスクも存在します。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社のような研究開発型企业にとって、知的財産権の問題を完全に回避することは困難と見ています。</li> <li>■ 第三者からの知的財産権侵害があった場合、期待される収益が失われる可能性があり、第三者との間で知的財産権に関する紛争が生じた場合には、当社の業績に重大な影響を及ぼす可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 知的財産権に関する豊富な知識・経験を有する外部専門家も活用し、事業を行う市場における知的財産権の状況を継続的にモニタリングを行うことで、リスクの回避と影響の低減を図っています。</li> </ul>

# 認識するリスクと対応策 -2/2

関連分野	リスクの内容	発生可能性と想定される影響	対応策
研究開発資金の調達	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 研究開発型企業として、長期にわたって先行投資の期間が続きます。</li> <li>■ このため、開発品の上市やパートナー企業との業務提携契約締結に遅れが生じる、または有価証券の発行等による資金調達が困難となるリスクがあります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社グループは、研究開発に必要な資金を、主に2014年の株式上場と増資で確保してきましたが、将来的に必要なタイミングで資金が調達できない場合、パイプラインを縮小せざるをえず、将来の期待収益が失われる可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 今後3 - 4年の期間において使用できる現金の上限に関してガイダンスを定め、許容される現金の範囲内でパイプラインバリューを最大化すべく、常にポートフォリオの見直しを行っています。最近では、リスクの高い早期段階の研究プロジェクトの優先順を下げ、より成功確率の高い後期ステージの開発品に経営資源を集中しています。</li> </ul>
製造	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社は製造施設を有していないため、開発品の製造を社外に委託することに伴うリスクがあります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 委託先の選定に時間を要した場合、開発計画や製品の販売時期が遅延する可能性があります。</li> <li>■ また、委託先の製造施設や物流施設などにおいて、技術上・流通上もしくは法規制上の問題等により、製品の供給に支障が出る可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ これまで培ってきた経験・ノウハウや、グローバルなネットワークを活用し、適切な時期に製造・開発委託先の選定を行い、製品供給体制を構築する方針です。</li> </ul>
商業化	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社の開発品が販売可能になった場合、各市場で新たに販売およびマーケティング体制を構築することに伴うリスクがあります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 販売およびマーケティング体制の構築に想定以上に時間を要する、または構築ができない場合、製品の販売遅延等につながる可能性があります。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社が活用できる経営資源に鑑み、自社単独で販売およびマーケティング体制を構築することが困難な場合には、その分野で経験・ノウハウを有する社外企業と提携することで、早期の市場浸透を図る方針です。</li> </ul>

# 進捗状況の開示

---

- 成長戦略に伴う中期的な経営計画は「事業計画および成長可能性資料」の進捗開示として2026年3月末に開示を予定しております