

第1四半期決算 補足資料

東京

2014年5月20日および21日

アキュセラ・インクは、世界中で数百万人の人々に影響を及ぼしている、視力を脅かす眼疾患を治療または進行を遅らせる可能性のある革新的な治療薬の探索および開発に取り組んでいる、臨床開発段階のバイオ製薬企業です。



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。

はじめに



アキュセラ・インク



企業理念:

視力を脅かす眼疾患の撲滅を目指し、革新的な新薬の探索および開発に取り組む

経営方針:

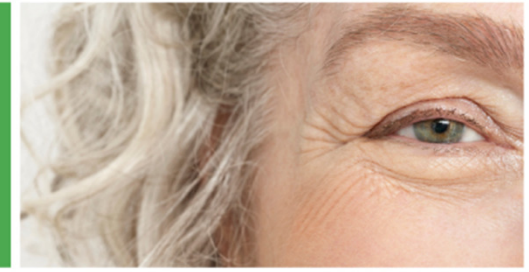
- 革新的なサイエンスを応用し、有効な治療法のない眼疾患の治療に貢献する
- 社会に貢献する企業であり続ける
- よりよい職場環境作りを目指し、社員の生活向上を重視する

2014年第一四半期のハイライト



- 2月： 東京証券取引所マザーズ市場へ上場（証券コード：4589）
- 3月： 臨床第2b/3相試験（SEATTLE試験）被験者登録完了。2014年12月期業績予想への影響は無し
- 5月： 地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象に現在進行中の臨床第2b/3相試験であるSEATTLE試験に関して、当社からの要請により、米国食品医薬品局（FDA）と正式な面談を実施。2014年5月9日にプレスリリースにて開示
 - 現在進行中のSEATTLE試験（臨床第2b/3相試験）を、当初の予定通り24ヶ月の投与期間終了まで継続
 - SEATTLE試験の結果をもって、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象に、少なくとも更に1件の臨床第3相試験を実施する予定

パイプライン



医薬品	前臨床	第1相	第2相	第3相	オリジネーター ⁽²⁾	当社のテリトリー	知的財産権満了日
視覚サイクルモジュレーター (VCM)	加齢黄斑変性				当社	北米(共同)、EU、南米及びアフリカ	2029年11月 (延長する場合があります) ⁽³⁾
	エミクススタト塩酸塩	糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫					
		スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症 ⁽¹⁾					
その他のVCM及び網膜製品候補		スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症				全世界	
OPA-6566	緑内障				大塚製薬	米国(共同) ⁽⁴⁾	2025年4月 ⁽⁵⁾

(1) バックアップ化合物

(2) 化合物保有者のことをいいます。

(3) ハッチ・ワックスマン法による特許期間の延長および特許使用の追加の場合を除きます。

(4) 臨床第2相試験および臨床第3相試験の完了時に共同開発および共同販売を選択する権利があります。

(5) 「OPA-6566」の特許期間は、そのオリジネーターである大塚製薬により最大で5年間延長できる可能性があります。

「エミクススタト塩酸塩」



「エミクススタ塩酸塩」開発の経緯

(地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性治療薬)

当社が自社開発した視覚サイクルモジュレーター化合物



- » 毒性試験
- » 前臨床試験
- » 探索研究

- » IND申請
- » ヒトでの臨床試験を開始

- » 5件の臨床第1相試験実施
- » 臨床第2a相試験実施 (GA患者対象)
- » 合計179例の被験者に「エミクススタ塩酸塩」を投与
- » FDAからファスト・トラック対象に指定

- » 臨床第2b/3相試験被験者登録完了 (合計508名)

2005

2007

2008

2009

2012

2013

2014

- » 臨床第2b/3相試験開始
- » 投与期間2年の試験

(1)GA—地図状萎縮のことをいいます。

「エミクススタト塩酸塩」 臨床第2b/3相試験



• デザイン

- 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、本剤の安全性と有効性をプラセボと比較する、無作為化⁽¹⁾二重盲検用量範囲探索試験

• 評価項目

- 主要評価項目
 - 本剤投与群の地図状萎縮の進行遅延効果をプラセボ投与群と比較
- 副次的評価項目
 - 安全性及び認容性
 - 最高矯正視力の変化
 - 脈絡膜血管新生(ウェット型加齢黄斑変性)に対する効果

• 進捗状況

- 被験者登録完了(合計508名)
- 当該24ヶ月の臨床試験のトップライン結果⁽²⁾は2016年中旬頃を予定

(1) 無作為化—治療群を、治験責任医師等の判断ではなく、ランダムに割り付けて実施し評価を行う試験方法。出典：www.clinicaltrials.gov.

(2) トップライン結果—トップライン結果とは、通常、臨床試験の結果が事前に設定された主要評価項目に達成したか否かを評価するための、ハイレベルな結果のことを言います。

5月9日プレスリリースの概要



- **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相試験であるSEATTLE試験に関する確認事項及び今後の方針**
 - 2年間の投与期間の評価を行う試験
 - 本試験のトップライン結果の発表は、2016年中旬頃を予定
 - 本試験が終了するまで、中間解析データの評価は行わない
 - 本試験の結果をもって、少なくとも更に1件の臨床第3相試験を実施する予定
 - 臨床第3相試験でも、2年間の投与期間の評価を行う予定
 - 臨床第3相試験の結果次第で、FDAに新薬承認申請を行うか否かを決定
 - 新薬承認申請を行った場合、FDAは申請資料の評価分析を行い、規制上の要件を満たしているかを審査
- **重要ポイント**
 - 臨床第2b/3相試験であるSEATTLE試験の臨床試験デザインに変更はない
 - 今回のFDAからの見解は、本プログラムのデータとは一切関係ない

財務概要



大塚製薬との提携概要



エミクススタト塩酸塩契約

・提携の主要ポイント

- 大塚製薬との間で、「エミクススタト塩酸塩」およびそのバックアップ化合物に関し、ドライ型加齢黄斑変性およびその他眼科疾患の治療薬開発および商業化のための共同契約を締結
- 大塚製薬は、当社に対してアップフロントとして5百万米ドルを提供。また、共同テリトリーである北米において、臨床第2相試験までにかかる費用のうちの40百万米ドルまでを負担。更に、「エミクススタト塩酸塩」のドライ型加齢黄斑変性以外の眼科適応症に対する基礎研究ならびにバックアップ化合物の基礎研究を目的とした共同研究プログラムに対して3年間にわたり合計15百万米ドルを提供
- 2011年以降、大塚製薬は開発費用に関わる当社負担分を資金提供。かかる費用は、「エミクススタト塩酸塩」の商業化により得られる利益(もしあれば)または売上もしくはライセンス手数料(もしあれば)により返済予定⁽¹⁾
- 大塚製薬は当社に対し、最大257.5百万米ドルのマイルストーンを提供(但し、一定条件における損益分担ならびにさまざまな開発、規制および売上目標の達成に基づく)

(1) 大塚製薬に返済が予定されている借入金の詳細については、有価証券報告書をご参照下さい。当社と大塚製薬との間の取決めに基づく財務制限条項はありません。2014年3月31日および2013年12月31日現在、借入金の残高は、発生した利息を含み、それぞれ33.1百万米ドルおよび32.9百万米ドルでした。
出典:有価証券報告書、第1四半期決算短信、Form 10-K

大塚製薬との提携概要



緑内障契約(「OPA-6566」)

• 提携の主要ポイント

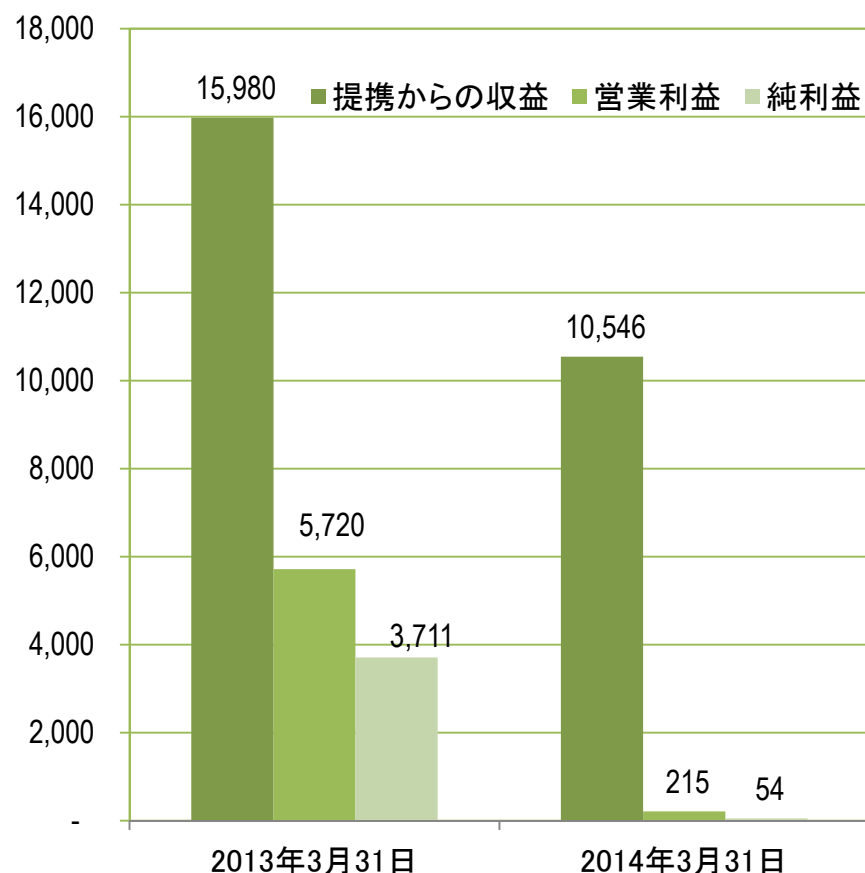
- 本契約により大塚製薬は、当社に米国における「OPA-6566」の共同開発および共同販売について選択権を付与。選択権は、臨床第2相試験および／または臨床第3相試験が成功した場合において行使可能
- 当社が選択権を行使するまで、大塚製薬は開発活動費を負担
- 当社が選択権を行使した場合、当社は大塚製薬に対し、共同開発および共同販売のタイミングおよび参加比率(25%または35%のいずれか)によって10百万米ドルから55百万米ドルの範囲におけるマイルストーンを支払う
- 本契約は、さまざまな臨床および販売目標に基づく、当社の大塚製薬に対する最大75百万米ドルのマイルストーン支払いを想定

出典: 有価証券報告書、第1四半期決算短信、Form 10-K

損益計算書： 2013年3月31日および2014年3月31日の比較



(千米ドル)



提携からの収益

- 前年同期と比較して約5.4百万米ドル(34.0%)減少
- エミクススタ塩酸塩契約に基づく臨床第2b/3相試験に関連する活動は増加したものの、今期はマイルストーンの支払いが予定されていなかったことや、レバミピド契約の解除および「OPA-6566」の臨床第1/2相試験の完了により収益が減少

営業利益

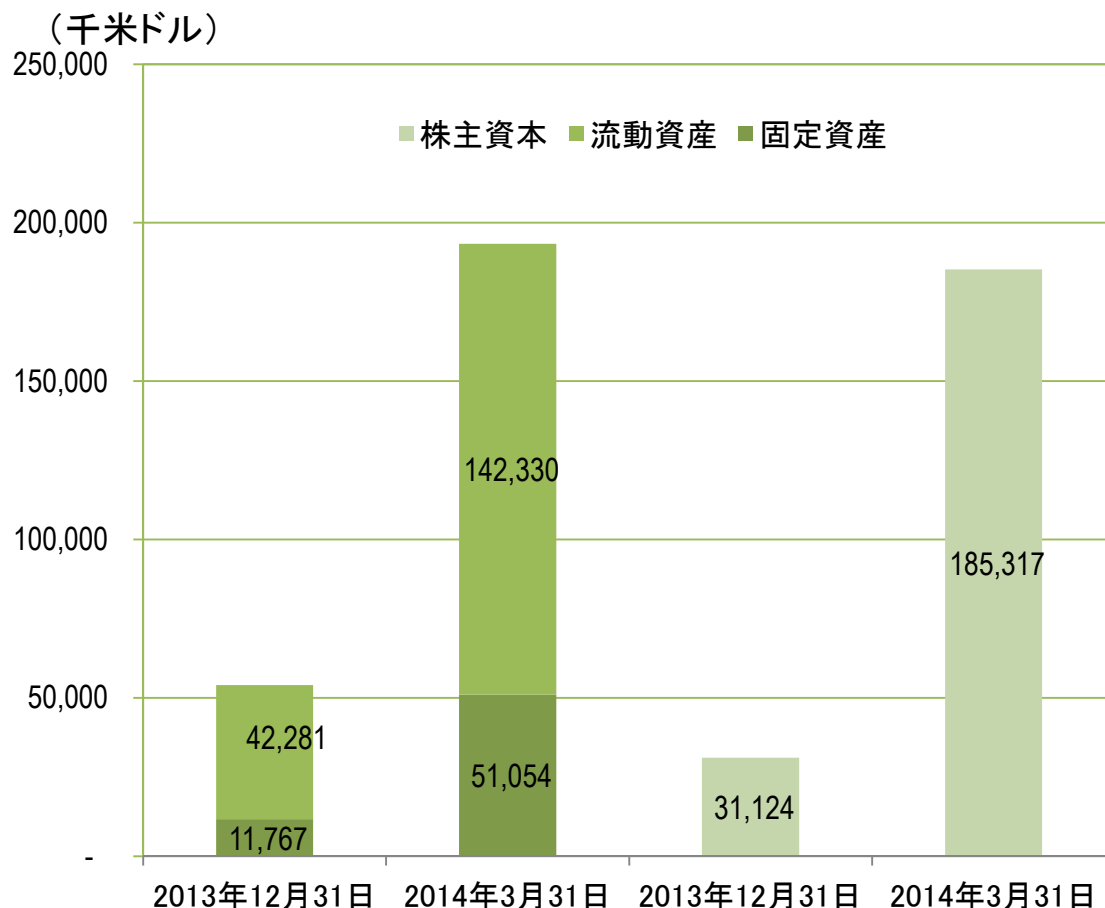
- 減益は、主にマイルストーン支払いが予定されていなかったことによる
- 研究開発費は、前年同期と比較し約0.2百万米ドル(1.9%)減少。主に、「OPA-6566」の臨床第1/2相試験の完了による臨床プログラムに関連する研究開発費およびレバミピド契約の解除による研究開発費の減少による
- 一般管理費は、前年同期と比較して約0.2百万米ドル(10.7%増加)。主に、上場手続きに関する費用に起因

純利益

- 前年同期と比較して実効税率が35%から78%に増加
- 実効税率の差は主に、ストック・オプション、飲食費、交際費およびその他雑費に関する会計上の利益および課税所得の永久差異に起因

注1: 当社の財務情報は、米国で一般的に認められた会計基準(GAAP)に準拠して作成された財務書類に基づいております。四半期決算データは、未監査の財務書類から抜粋されたものです。

貸借対照表： 2013年12月31日および2014年3月31日の比較



• 新規株式公開

- 新規株式公開を完了し、9,200,000株の普通株式を、1株当たり17.72米ドルで売却
- 総額142.0百万米ドルの正味手取金(引受割引および手数料ならびに発行費用控除後)を受領
- 新規株式公開の完了において、当社の発行済転換優先株式および転換債務は、当社普通株式に自動的に転換

• 資産合計

- 流動資産および固定資産は新規株式公開に伴う正味手取金により増加
- 提携からの未収金の増加は大塚製薬に対する支払請求、回収のタイミングに起因している。大塚製薬との契約上の取決めに基づき、回収は問題なく実行されており、残高はすべて支払われると想定

• 株主資本

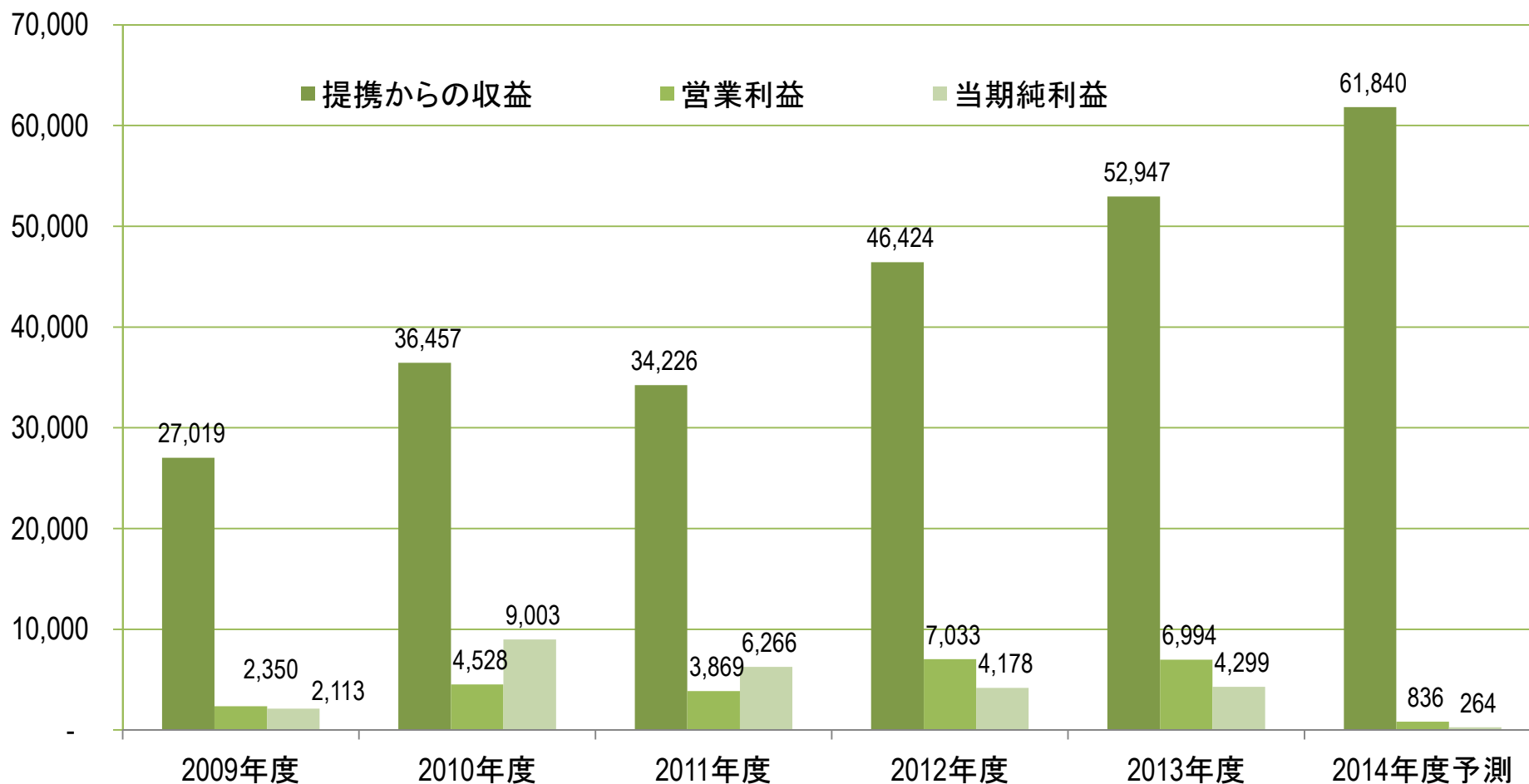
- 新規株式公開の完了において、当社の発行済転換優先株式および転換債務が普通株式に自動的に転換されたことにより増加

注1: 当社の財務情報は、米国で一般的に認められた会計基準(GAAP)に準拠して作成された財務書類に基づいております。四半期決算データは、未監査の財務書類から抜粋されたものです。

損益計算書データ



(千米ドル)



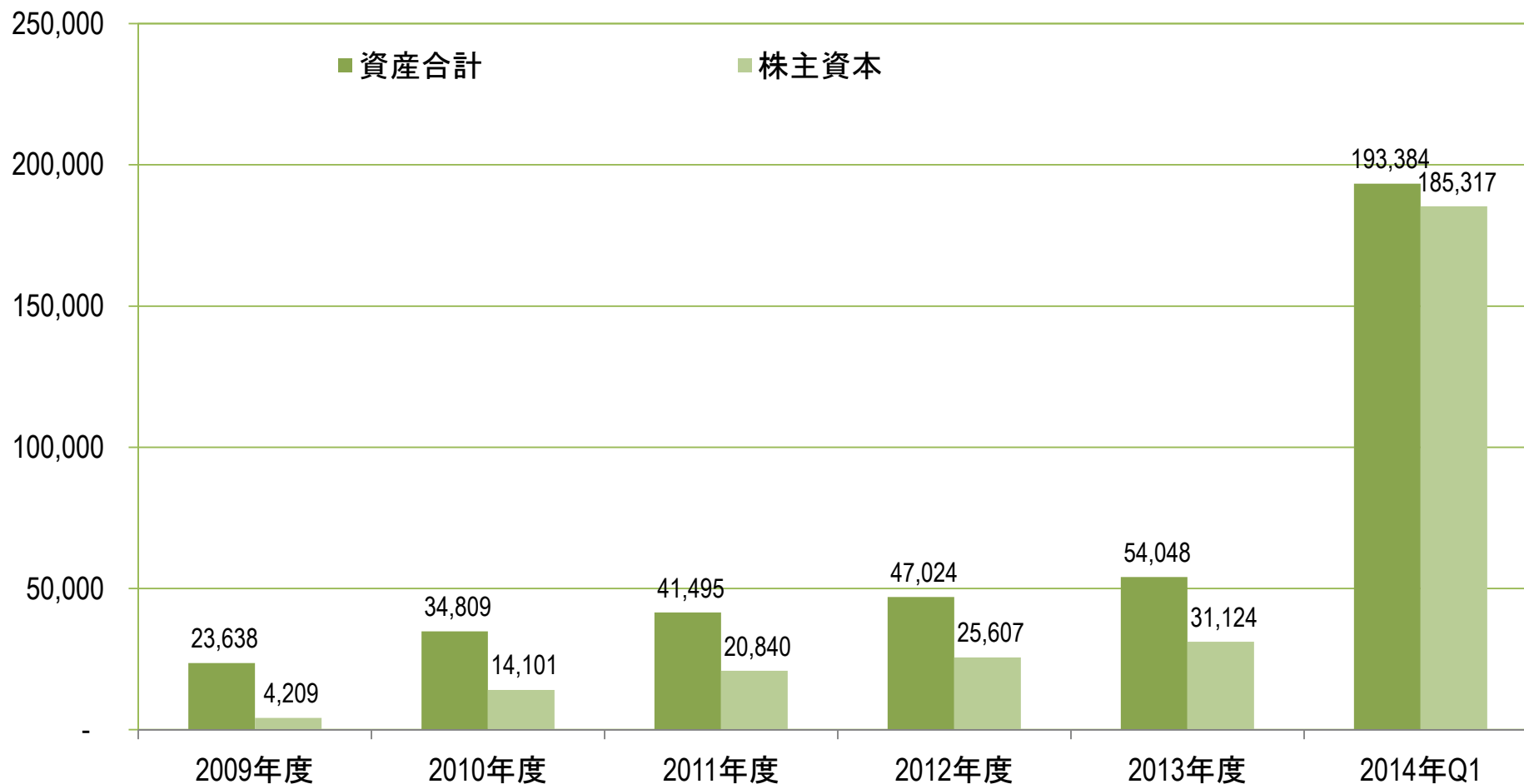
注1: 当社の財務情報は、米国で一般的に認められた会計基準(GAAP)に準拠して作成された財務書類に基づいております。2009年年度および2010年12月31日のデータは、未監査の財務書類から抜粋されたものです。

注2: 収益表記は、今期以降、2013年12月期決算短信までの「関連当事者との提携からの収益」という表記から変更されております。かかる変更は、新規株式公開に伴い大塚製薬の持分が10%以下となったため、米国GAAPにおける「関連当事者」でなくなったことによります。

貸借対照表データ



(千米ドル)



注1: 当社の財務情報は、米国で一般的に認められた会計基準(GAAP)に準拠して作成された財務書類に基づいております。2009年度および2010年度のデータは、未監査の財務書類から抜粋されたものです。



アキュセラ・インクは、世界中で数百万人の人々に影響を及ぼしている、視力を脅かす眼疾患を治療または進行を遅らせる可能性のある革新的な治療薬の探索および開発に取り組んでいる、臨床開発段階のバイオ製薬企業です。

