



株主通信

2014年1月1日 ▶ 2014年12月31日



ACUCELA
in it for sight

アキュセラ・インク

証券コード：4589

ごあいさつ

設立当初より変わらない「眼疾患に革新的な治療をもたらし、社会に貢献する」という信念を貫き、新経営体制で事業拡大に挑む

株主、投資家の皆様には、平素より格別のご高配を賜り厚く御礼申し上げます。



当社は2014年2月に東京証券取引所マザーズ市場に上場させていただきました(証券コード:4589)。また、2015年5月より新役員のもと、高い専門知識と豊富な経験を有する新たな経営陣を招聘し、今後は事業を拡大すべく戦略的業務計画を遂行してまいります。本年も新執行役員、従業員一丸となり、一層の使命感をもって開発・事業に取り組んでいく所存でございます。

上市を目指し、臨床試験を着実に遂行

当社は、加齢黄斑変性という中途失明の原因疾患に対して、世界で初めて飲み薬で治療するというアプローチを発見しました。2013年に当社が独自に開発した視覚サイクルモジュレーター「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2b/3相試験を開始し、2014年に508人の被験者登録が完了しました。2016年にトップラインデータを発表する予定です。現在、加齢黄斑変性に苦しむ患者の数は、世界では約1億2,700万人を超えると推定されています。当社が、治療対象にしているのは、加齢黄斑変性の中でも末期にあたる地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性です。ドライ型加齢黄斑変性は、眼球の奥にある網膜の障害によって引き起こされ、のちにウェット型を引き起こすケースと、ドライ型のまま進行して中心視力が少しずつ失われる地図状萎縮などを伴うケースがあります。重篤なケースでは、失明につながる恐れもあります。現在、ドライ型加齢黄斑変性の初期から地図状萎縮を伴う末期に対する治療薬としてFDA(米国食品医薬品局)の承認を受け上市されている薬剤はありません。

私は、慶應義塾大学医学部で眼科学を学び、臨床医、研究者として眼科疾患の研究に20年以上取り組んでまいりました。高齢化に伴い「クオリティ・オブ・ライフ」の向上がますます重要になる中、視力をつかさどる眼疾患に対する治療法は、十分に整っているとは言えません。当社は、眼疾患に対する革新的な治療の開発を目指しています。

社会に貢献する企業であるために

当社の理念は、眼疾患の革新的な治療の確立を通じて社会に貢献し、株主、投資家の皆様をはじめ社員、医療関係者を含む、全てのステークホルダーの共同利益を実現していくことです。視覚サイクルモジュレーション技術による「エミクススタト塩酸塩」の臨床試験を遂行し、世界の患者様のために1日も早く、新治療薬として世の中に送り出すとともに、他の眼疾患への適応、新規プログラムの導入など事業拡大を推進し、国内外の大学、製薬会社、バイオベンチャー企業との共同研究、事業提携を積極的に展開することにより、企業価値の最大化を目指してまいります。

当社の理念の実現に向け、本年はスタッフの増員および会社の組織・陣容の強化を図ってまいります。5月から製薬分野で豊富なキャリアをもつ3名の新執行役員を招聘し、事業拡大に向けて大きく舵取りを開始いたしました。

株主、投資家の皆様には、引き続き中長期的な視点で、当社に対する変わらぬご理解、ご支援を賜りますようお願い申し上げます。

2015年5月

窪田 良
会長、社長兼最高経営責任者(CEO)

新たな戦略的事業計画を開始

当社は、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性治療のために「エミクススタト塩酸塩」の開発を進めるとともに、緑内障・ドライアイなど網膜疾患の治療薬創出のための当社専有前臨床化合物および当社がインライセンスする化合物の開発、そして視覚サイクルモジュレーションの専門知識を活用し、外部とのパートナーシップ、インライセンスなどの機会を追求することに重点を置く新たな戦略的事業計画を開始しました。

具体的な戦略

1. 「エミクススタト塩酸塩」開発において大塚製薬株式会社との提携継続

大塚製薬株式会社と進めている「エミクススタト塩酸塩」臨床第2b/3相試験を継続していきます。緑内障治療薬「OPA-6566」は、臨床試験の段階について次の段階を検討していきます。

2. 当社の販売領域において「エミクススタト塩酸塩」のパートナーシップ提携に向け取り組みを開始

2016年半ばに出る「エミクススタト塩酸塩」臨床第2b/3相試験のトップラインデータを基に、ヨーロッパを対象とした「エミクススタト塩酸塩」契約に基づく導出の取り組みを開始します。

3. 視覚サイクルモジュレーションに関する専門知識・技術の活用

視覚サイクルモジュレーション技術を活用し、糖尿病性網膜症や糖尿病性黄斑浮腫など他の適応症に対して、「エミクススタト塩酸塩」の開発の可能性を評価していきます。そのために、2015年に臨床前の動物モデル実験を開始・完了させることを予定しています。

4. 社内研究、新規パートナーシップ、インライセンスなどを通じて眼科製品パイプラインを確立

2015年に、社内創薬および開発努力に対して資金を供給するために資本を投じます。また、ライセンスの供与や将来性のある眼科製品の新薬候補に対する権利の獲得を行っていきます。

知的財産について

当社は、自社の技術の特許による保護に積極的に努めていきます。また、秘密保持契約による保護が有利な場合には、非特許専有技術およびノウハウの保護も重視していきます。

当社は、2015年3月31日現在117件の特許が登録済み、181件の特許を出願しています。

新体制が始動

2015年度の新体制を担う経営陣、役員を紹介します。

窪田 良 会長、社長兼最高経営責任者 (CEO)

当社の創業者。眼科専門医として網膜疾患や緑内障、白内障などの手術の執刀経験を持つ。慶應義塾大学でMDおよびPhDを取得。同大学において教員を務めたほか、ワシントン大学の医学部において助教授として勤務。1996年に日本眼科医会による眼科専門医の資格を取得、米国眼科学会、米国視覚眼科学会 (ARVO)、日本眼科学会、慶應医学会の会員を務める。2014年より慶應義塾大学医学部客員教授を務める。当社にて2002年6月から2014年12月まで最高経営責任者、2015年5月に会長、社長兼最高経営責任者 (CEO) に就任。

ジョン・ゲブハート 最高財務責任者 (CFO)

ペパーダイン大学 (カリフォルニア州) でMBAを取得。アーンスト・アンド・ヤングにてCPA (公認会計士) として経験を積み、コンサルタントとして独立。2004年から2012年まで、経営、プロジェクト管理等の遂行業務サービスをRemote Medical International、Ventripoint、PhysioSonics、Carena、Clarity Health、Nexcura、DS-IQなどのヘルスケアおよびテクノロジー企業に提供。2012年から2015年まで、医療サービスのリーダー、Qliance Medical Management Inc. にてCFOを務める。2015年5月に当社の最高財務責任者 (CFO) に就任。

スティーブ・ター 最高執行責任者 (COO)

ポートランド州立大学にて、企業組織内のテクノロジー統合に焦点をおいたシステムサイエンスの博士号を取得。ワシントン州立大学にてコンピューターサイエンス修士号、生物学学士号を取得。グローバルコミュニケーション、ヘルスケア、教育等の業界においてフォーチュン500企業から新興企業まで、さまざまな企業での上級幹部職を務める。また、Emeritus Senior Living社にてEVP & CIOを務め、業界を牽引する技術を手がける。2015年5月に当社の最高執行責任者 (COO) に就任。

テッド・ダンス 最高事業責任者 (CBO)

サンダーバード国際経営大学院 (アリゾナ州) で国際経営学のMBAを取得。ISTA Pharmaceuticals Inc. の社長兼CEOを務め、2000年に同社のNASDAQ市場上場を果たす。2005年から2014年まで、Neurotech Pharmaceuticals, Inc. の社長兼CEOを務める。網膜への薬剤投与機であるMicroPumpを開発するReplenish, Inc. にて社長を務め、同社の構造改革、資本改善を行い、グローバル企業への技術譲渡等の成果を収める。2015年5月に当社の最高事業責任者 (CBO) に就任。

北尾 吉孝

社外取締役

1999年よりSBIホールディングス (株) の最高経営責任者 (現任)。ソフトバンク (株) にて取締役、執行副社長および最高財務責任者、ソフトバンク・ファイナンス (株) にて最高経営責任者兼代表取締役を務めた後、2005年4月より2013年9月まで当社の取締役を務める。2015年5月に当社社外取締役に就任。2015年6月に当社定時株主総会の承認決議をもって当社社外取締役に退任予定。

三田 四郎

社外取締役

2000年より (株) エムズサイエンスの社長兼最高経営責任者 (現任)。参天製薬 (株) の薬剤開発担当執行取締役を務める。2015年5月に当社社外取締役に就任。

ロバート・タケウチ

社外取締役

2004年よりRTコンサルティング・インク社長 (現任) Quark Pharmaceuticals, Inc. 取締役、Softbank Finance America Corporation 社長を務める。2015年5月に当社社外取締役に就任。

浅子 信太郎

社外取締役 (就任予定)

南カリフォルニア大学のLeventhal School of Accountingを卒業。1998年から2005年まで、KPMG LLPおよびアーサー・アンダーセン LLPのさまざまな役職を務め、監査、税務および事業コンサルティングサービスを多国籍の顧客に提供。その後、バイオ製薬企業のメディシノバ・インクの最高財務責任者を務める。2013年に (株) ディー・エヌ・エーの米国関連会社であるDeNA Westの最高経営責任者に就任。2015年6月に当社定時株主総会の承認決議をもって当社社外取締役に就任予定。

中村 栄作

社外取締役

バイオサイトキャピタル (株) の取締役兼部長、Berevno Corporationの最高経営責任者兼社長を務める。また、CanBas Corporation、(株) アクティバスファーマ、一般社団法人こいのぼり (現任) の各社において社外取締役を務める。2015年5月に当社社外取締役に就任。

加齢黄斑変性って？

加齢黄斑変性は、網膜の機能に支障をきたし、視力の低下や失明につながる恐れのある眼疾患で、ドライ型 (萎縮型) とウェット型 (滲出型) があります。

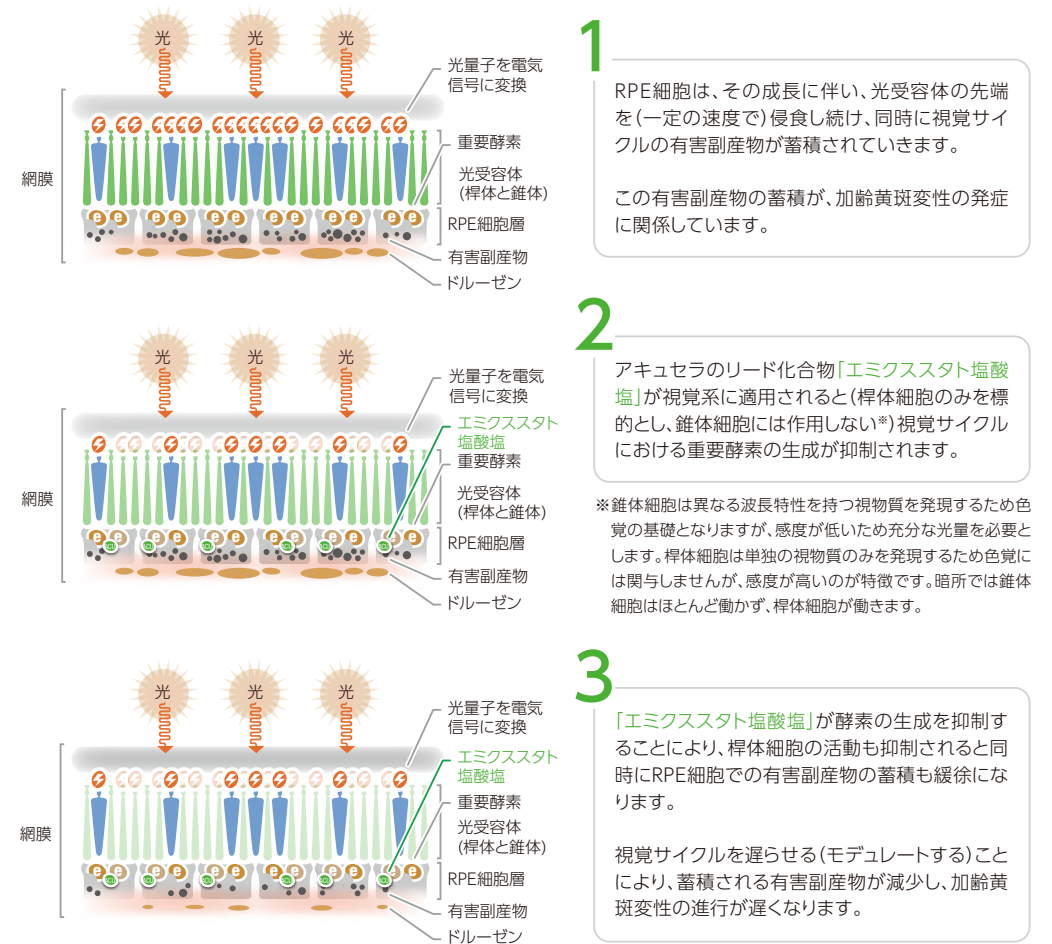
私たちは、網膜で受けた光を電気信号に変換して脳に伝えることで映像を認知しています (「視覚サイクル」といいます)。しかし、強い光を受けると視覚サイクルが過剰に活動するため網膜内に有害副産物が生じ、ドルーゼンと呼ばれる黄色脂質 (老廃物) が網膜下に蓄積します。これにより、黄斑と呼ばれる網膜の敏感な層にある網膜色素上皮 (以下「RPE」という) が減少し、やがて地図状萎縮と呼ばれる症状を引き起こし、悪化すると失明につながることもあります。これがドライ型です。

ウェット型は、網膜下組織で新生血管が形成され、もろくて弱い新生血管が出血 (滲出) することにより網膜組織が損傷されることで起こります。進行が速く、急速に悪化します。

＼ここがすごい！／

当社が臨床試験を進めている地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性を対象とした視覚サイクルモジュレーター「エミクススタ塩酸塩」は、網膜に蓄積する有害副産物を減少させ、網膜の障害を軽減し、光障害から網膜を保護する効果が期待されます。そして、投与しやすい経口薬であるところが注目を集めています。

視覚サイクルモジュレーターによる機能図



アキュセラピーブル スペシャルインタビュー

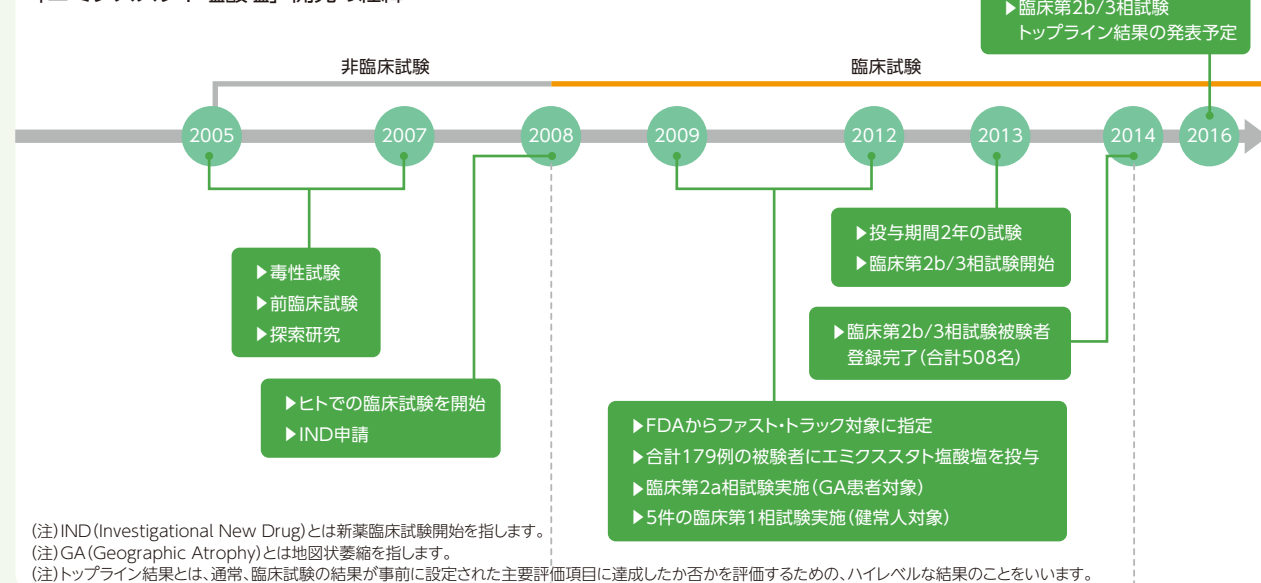
新薬は、候補物質探索にはじまり、さまざまな研究や試験を行い、長い研究開発期間をかけようやく患者様のもとに届けられます。

アキュセラ・インクでも、新薬開発のために日々奮闘しています。今回は彼らの仕事についてご紹介していきます。

質問

- Q1. 担当されている業務の内容を教えてください。
- Q2. なぜ眼科学を選んだのですか？
- Q3. 仕事/役割の中でモチベーションとなるのはどんなことですか？

「エミクススタト塩酸塩」開発の経緯



- 私の所属部署は、新薬の開発候補化合物の発見から製造までの一連のプロセスを手がけています。また、処方開発や患者様の手が届く最終製品の製造、そして分析法の研究開発、臨床パッケージング、サプライチェーンなどの管理と多岐に渡っています。さらに、知的財産権に関する案件にも携わっています。
- 私の専門分野は低分子合成技術を利用し医薬品を開発することなので、眼科学だけではなく炎症、血管や糖尿といった疾患分野にも携わってきました。新薬開発の化学者にとって、疾患部位はあまり関係ありません。
- この業界では、同じ会社が化学物質の発明から商品化までを行うことは滅多にありません。「エミクススタト塩酸塩」が上市され、人々を失明の危機から救うことに貢献できればこれほど嬉しいことはありません。これこそが最高のモチベーションですね。



マーク・オーム

担当: 医薬品化学、プロセス化学担当
 役職: 化学&CMC (化学・製造および品質管理) ディレクター
 経歴: ウェスタン・ワシントン大学 化学学士号
 シカゴ大学 有機化学修士号

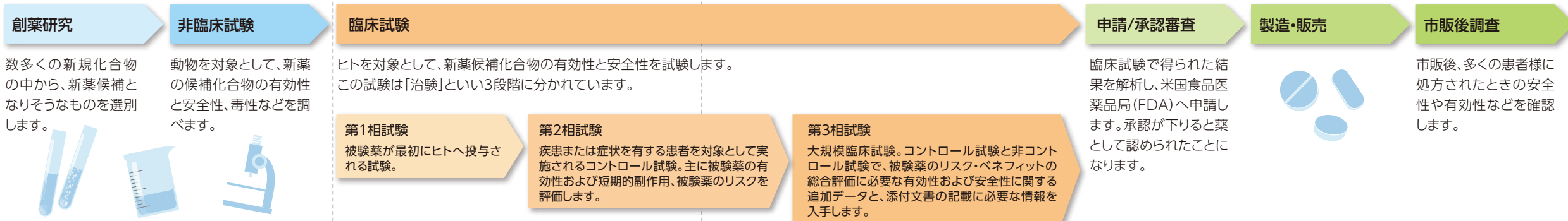


ラッセル・エアー

担当: 非臨床安全評価担当
 役職: 毒物学ディレクター
 経歴: プリガムヤング大学 動物学学士号
 ワシントン州立大学 薬理学/毒物学博士号

- 私の役割は、主に非臨床安全評価です。これは新薬開発の全工程で常に重要な位置付けとなっておりますが、最も重要視されるのは、新薬候補をヒトに初めて投与する準備段階です。ヒトに投与する臨床試験が開始された後も、長期間の投与、女性や子供への投与、特定の患者層への投与量の調節や治験中に発生した安全性の問題点の改善など、臨床試験に必要な安全性を裏付けるための非臨床における安全性評価はとて重要で重要です。
- 私は、子供のころから眼鏡を必要としてきましたし、失明に至り苦労している知り合いを目の当たりしてきました。そのうちの1人は、視力が回復し、見えることの純粋な喜びに感銘を受けました。こういった経験から、眼科学に興味を持ちました。
- 世界を少しでも良くすることが私の義務であると考えており、人々の生活の質の改善に貢献することをモチベーションとしています。

新薬ができるまでのプロセス



1. 私の仕事は保健機関との交渉担当です。新薬開発における全ての段階で規制官庁と協力し合い、保健機関が求める要件に従い必要条件を理解し、法規制に沿った形で新薬開発がスムーズに進むように管理します。
2. 眼科領域に特化した製薬会社やバイオテック企業が少なくないにも関わらず、アキュセラは、アンメット・ニーズに応えるべく、治療薬がない眼疾患に悩む患者様のために新薬を開発するというところに魅力を感じます。
3. 患者様の生活向上に貢献できる可能性があるということにモチベーションを感じます。このポジションは、大局的な視野に立ち、米国内だけではなく世界中の薬事規制に関する情報も入手することができます。世界各国の薬事規制は常に進化していて、その進化にいかに対応するかということが私の仕事の醍醐味です。



シーマ・シェティ

担当: 薬事規制関連業務

役職: アソシエート・ディレクター

経歴: 薬学部修士号・薬事規制および高品質業務に関する修士号



ハンズ・ピーター・フレジャー

担当: コマーシャル・オペレーション & マーケティング戦略

役職: 副社長

経歴: ドイツ カールスルーエ大学 化学修士号・博士号

1. 私は、最適な製品プロファイルを明確にし、新薬の必要性の評価、そしてその価値を最大化するために必要な試験の検討などに携わっています。また、新薬を市場に出すだけでなく、他の疾患治療薬としての実用化の検討や製品ラインの拡大にも貢献しています。
2. 人間にとって「視覚」というのはとても重要な感覚だと思ったからです。視覚に対する疾患はたくさんあります。しかし、そういった疾患に対して失明を防ぐ方法もいろいろと存在します。私は視覚を守ることが、人々の生活の質に直接つながっていると考えています。眼科学というのはとても専門的な分野で、スペシャリストの数も少ないので、世界中の著名な眼科医師と知り合うことができ刺激を受けます。
3. 私にとってのモチベーションは、人々の生活が良くなるような新薬の開発に貢献できることです。視覚を失うと普通の生活を送ることが困難になります。世界中の人々のためになるような薬を開発することはとてもやりがいのある仕事です。

パイプライン/トピックス

パイプライン

医薬品	効能	前臨床	第1相	第2相	第3相	オリジネーター	当社のテリトリー
視覚サイクルモジュレーター エミクススタ塩酸塩	加齢黄斑変性	■				アキュセラ	北米(共同)、EU、南米及びアフリカ
	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 視覚サイクルモジュレーター 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	■				アキュセラ	全世界
OPA-6566	緑内障	検討中 ²				大塚製薬	米国(共同) ³

1. バックアップ化合物

2. 2012年、当社は、共同開発パートナーである大塚製薬との間の開発および提携契約に基づき、アデノシンA2a受容体アゴニストであるOPA-6566に関し、米国において緑内障または高眼圧症患者に対する臨床第1/2相試験を行いました。現在、かかるプログラムに関し次の段階を検討しています。

3. 本契約で大塚製薬は、臨床第2相試験および第3相試験後、共同開発および共同販売を行うためのオプション権を当社に付与しています。

トピックス(2014年度および2015年度)

2015年 5月	取締役の異動、最高経営責任者の異動および新経営体制に関するお知らせ
2014年12月	最高経営責任者(CEO)の異動
2014年10月	米国眼科学会議における「エミクススタ塩酸塩」に関する講演発表
2014年 9月	米国BioCentury主催の"Newsmakers in the Biotech Industry"に登壇
2014年 9月	視覚サイクルモジュレーション技術による新規米国特許取得
2014年 9月	社長兼最高執行責任者(COO)の就任および最高財務責任者(CFO)の異動
2014年 7月	視覚サイクルモジュレーション技術による新規米国特許取得
2014年 5月	「エミクススタ塩酸塩」臨床開発プログラムの進捗を発表
2014年 3月	「エミクススタ塩酸塩」の臨床第2b/3相試験被験者登録完了
2014年 2月	米国企業初の東京証券取引所マザーズ市場への単独上場

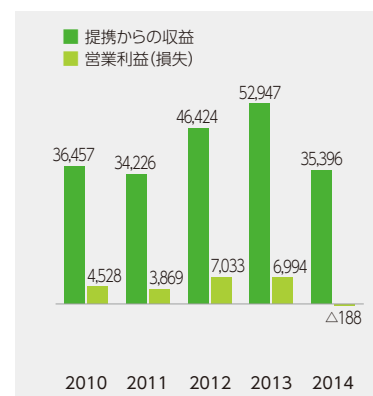
財務ハイライト

	12月31日終了年度				
	2010年 (未監査)	2011年	2012年	2013年	2014年
提携からの収益	36,457 (4,394,891)	34,226 (4,125,944)	46,424 (5,596,413)	52,947 (6,382,760)	35,396 (4,266,987)
営業利益(損失)	4,528 (545,851)	3,869 (466,409)	7,033 (847,827)	6,994 (843,126)	△188 (△22,664)
税引前当期純利益	4,537 (546,935)	3,786 (456,403)	6,825 (822,753)	7,182 (865,790)	353 (42,553)
当期純利益(損失)	9,003 (1,085,311)	6,266 (755,367)	4,178 (503,658)	4,299 (518,244)	△2,006 (△241,824)
基本1株当たり 当期純利益(損失)(米ドル(円))	—	0.14 (16)	0.09 (10)	0.10 (12)	△0.06 (△7)
資産	34,809 (4,196,224)	41,495 (5,002,222)	47,024 (5,668,743)	54,048 (6,515,482)	196,966 (23,744,249)
株主資本	14,101 (1,699,875)	20,840 (2,512,262)	25,607 (3,086,923)	31,124 (3,751,997)	184,363 (22,224,958)

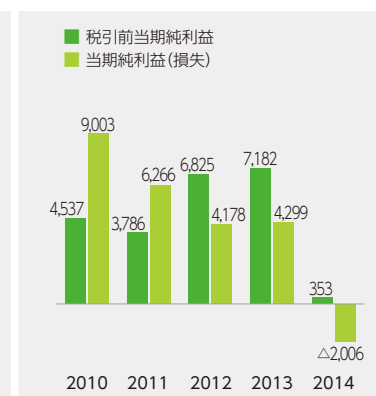
(単位：1株当たり金額を除き、千米ドル(千円))

[円]で表示されている金額は、1米ドル=120.55円(2014年12月30日現在)で換算された金額です。

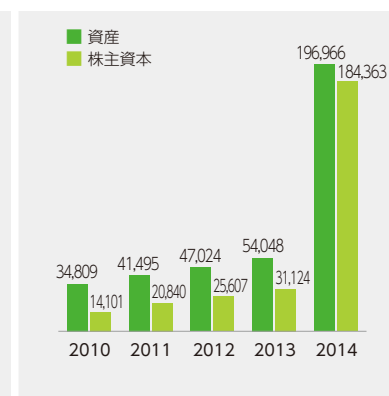
提携からの収益／営業利益(損失)
(単位:千米ドル)



税引前当期純利益／当期純利益(損失)
(単位:千米ドル)



資産／株主資本
(単位:千米ドル)



1.2011年、2012年、2013年および2014年の財務データは該当する事業年度の当社監査済財務書類からの抜粋です。当該財務書類は、アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーにより監査済みです。
2.2010年の財務データは、未監査です。

企業情報および株主情報

所在地 米国本社：
アメリカ合衆国、98101ワシントン州、シアトル市、
セカンド・アベニュー1301、スイート4200
(1301 Second Avenue, Suite 4200,
Seattle, Washington)

日本事務所：
〒150-6018 東京都渋谷区恵比寿4-20-3
恵比寿ガーデンプレイスタワー18F

設立年月日 2002年4月25日

従業員数 49名(2014年12月31日現在)

代表者 窪田良
会長、社長兼最高経営責任者(CEO)

非従業員取締役 北尾 吉孝*
(2015年5月1日現在) 三田 四郎

中村 栄作

ロバート・タケウチ

浅子 信太郎**

*北尾 吉孝氏は、2015年6月25日開催の当社定時株主総会の承認決議をもって正式に退任予定。

**浅子 信太郎氏は、2015年6月25日開催の当社定時株主総会の承認決議をもって正式に就任予定。

発行済株式総数 36,465,439株(2015年5月15日現在)

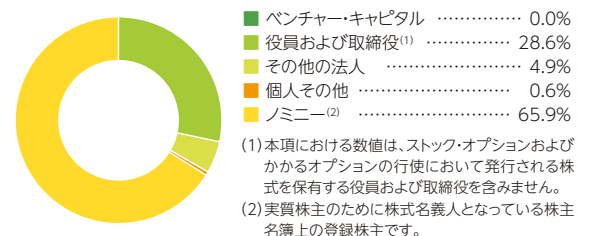
株主数 11,291名(2014年12月31日現在)

大株主の状況 (2014年12月31日現在)

株主名	所有株式数	持株比率
窪田良	10,240千株	28.6%
大塚製薬株式会社	1,888千株	5.3%
SBIバイオ・ライフサイエンス ⁽¹⁾ 投資事業有限責任組合	1,871千株	5.2%
バイオビジョン・ライフサイエンス ⁽¹⁾ 投資事業有限責任組合	1,777千株	5.0%
株式会社大塚製薬工場	1,515千株	4.2%
SBIインキュベーション株式会社 ⁽¹⁾	1,485千株	4.1%

(1)SBIグループ会社により保有または支配される株式およびSBIグループ会社により管理される投資ファンドが考慮される場合、SBIグループの保有割合の総計は21.6%となります。

株主の構成 (2014年12月31日現在)



株主メモ

- **証券コード**
東証マザーズ4589
- **決算期**
12月31日
- **売買単位**
100株
- **株式事務取扱機関**
東京都千代田区丸の内一丁目4番5号
三菱UFJ信託銀行株式会社
- **事務取扱場所**
東京都江東区東砂七丁目10番11号
三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部
- **株主名簿管理人**
Computershare Inc.
250 Royall Street Canton, MA 02021

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。

アキュセラ・インク

〒150-6018

東京都渋谷区恵比寿4-20-3 恵比寿ガーデンプレイスタワー18F

電話:03-5789-5872