



アキュセラ (Acucela Inc.)

証券コード: 4589

## 2014年12月期 株主総会のご報告及び会社説明会

2015年7月1日

アキュセラは、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。

## 2014年12月期株主総会のご報告



# 年次株主総会の決議に関するご報告



## 2015年6月25日、ワシントン州シアトル市で開催された当社の年次株主総会において、下記の通り決議事項が決議されました

### 第1号議案：取締役の選任の件

- 以下の取締役候補者全員が、2016年の年次株主総会においてそれぞれの後任者が選任され権限を付与されるまでまたはそれぞれの早期退任もしくは解任まで、1年間を任期として選任されました。
  - 窪田 良
  - 浅子 信太郎
  - 三田 四郎
  - 中村 栄作
  - ロバート・タケウチ

### 第2号議案：2015年12月31日終了年度における独立登録会計事務所（アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピー）任命の追認の件

- アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーを2015年12月31日終了年度における当社の独立登録会計事務所として任命したことが追認されました。

## 会社紹介



# ファウンダー、会長、社長兼CEO 窪田良 MD, PhD



## • 主な研究および眼科専門医としての実績

- 眼科専門医として、網膜疾患や緑内障、白内障など、1,000件以上の手術を執刀
- 緑内障原因遺伝子であるミオシリンを発見、「須田賞」を受賞
- 2002年にアキュセラを設立。視覚サイクル内の有害副産物が加齢黄斑変性の主たる要因であるという仮説に基づき研究開発に着手



## • 主な財務・ビジネスの実績

- 40百万米ドル強をシリーズA、B、Cで調達
- 最大258百万米ドルの大塚製薬と、視覚サイクルモジュレーション化合物に関わる共同開発・共同販売契約を締結
- 大塚製薬と緑内障に関わるパートナーシップを締結
- 2014年2月、東京証券取引所マザーズ市場に上場し、163百万米ドルの資金を調達



# 当社の強み



## 最先端のサイエンスを基に、眼科領域に特化したバイオ製薬企業

### 人材と戦略

- 業界経験豊富な経営陣
- 研究、開発、事業運営において幅広いスキルを持つ人材
- 眼科領域における革新的な事業展開を可能とする戦略的事業計画

### 技術

- ユニークな作用機序を持つ視覚サイクルモジュレーション技術
- 地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性の治験において先駆的な存在：現在治療薬の無い疾患
- 117件の特許を取得、181件の特許を出願中（2015年3月31日現在）

### パートナーシップ

- 大塚製薬との長期的視野に基づく提携関係
- 安定した資金を享受することが可能な提携関係
- リード化合物「エミクススタト塩酸塩」に関しては、欧州、南米、アフリカのほぼ全域において単独商業化権を保有（北米においては大塚製薬と共同販売）

### 財務内容

- 2014年2月に東証に上場。総額163百万米ドルを調達
- 2015年第1四半期で、187百万米ドルの現金および短期・長期投資有価証券を保有。安定した財務内容

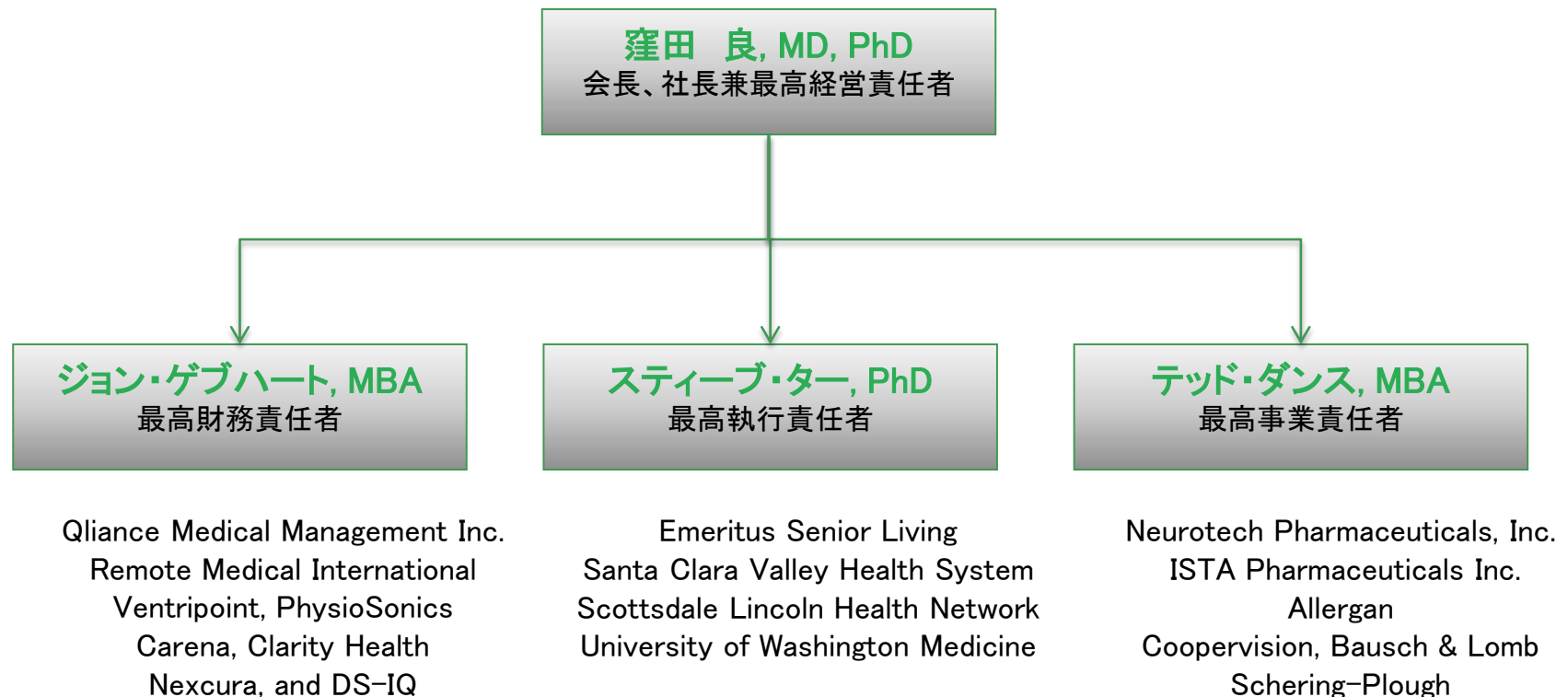
## 人材と戦略



# 新経営体制



2015年5月1日、新取締役会により、今後の会社の長期的成長に向けて経験豊富な経営陣を投入し、新経営体制が発足



# 役員紹介



役員	経歴
窪田 良 MD、PhD	アキュセラ・インク創業者 会長、社長兼最高経営責任者（CEO）
浅子 信太郎	DeNA West 最高経営責任者 前職：MediciNova, Inc.、最高財務責任者
三田 四郎 PhD	株式会社エムズサイエンス 社長兼最高経営責任者 前職：参天製薬株式会社、薬剤開発担当執行取締役
中村 栄作	一般社団法人こいのぼり 理事 前職：バイオサイトキャピタル株式会社、取締役兼部長、Berevno Corporation、最高経営責任者兼社長 CanBas Corporation、社外取締役、株式会社アクティバスファーマ、社外取締役
ロバート・タケウチ	RTコンサルティング・インク 社長 前職：Softbank Investment America Corporation、社長、Softbank America、財務部長および秘書役、Credit Suisse First Boston社、国際エクイティ・セールスのディレクター、SBIインベストメント株式会社およびQuark Pharmaceuticals, Inc.、取締役

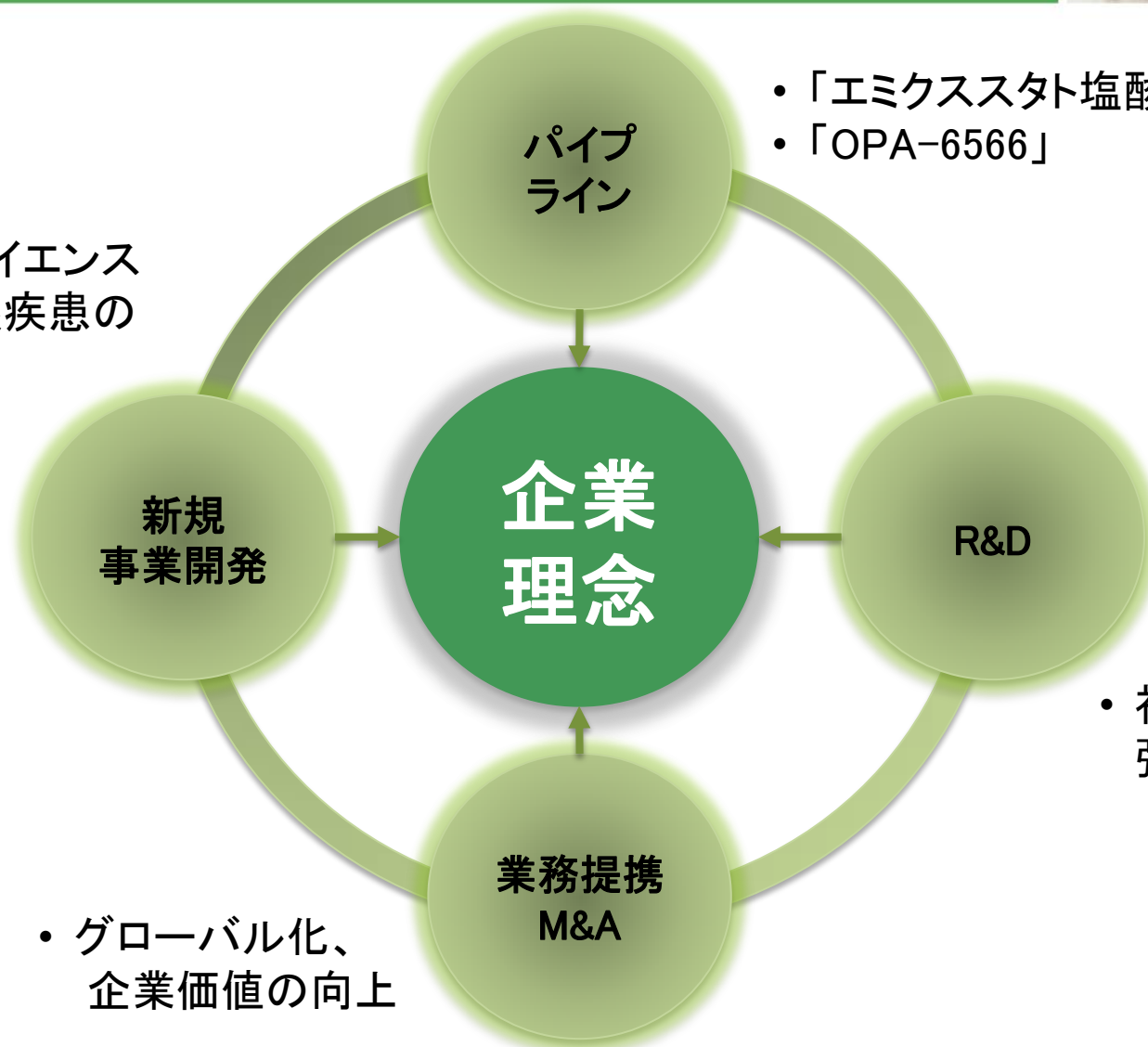
(注)2015年7月1日現在

# 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



- 革新的なサイエンスを応用し、眼疾患の治療に貢献

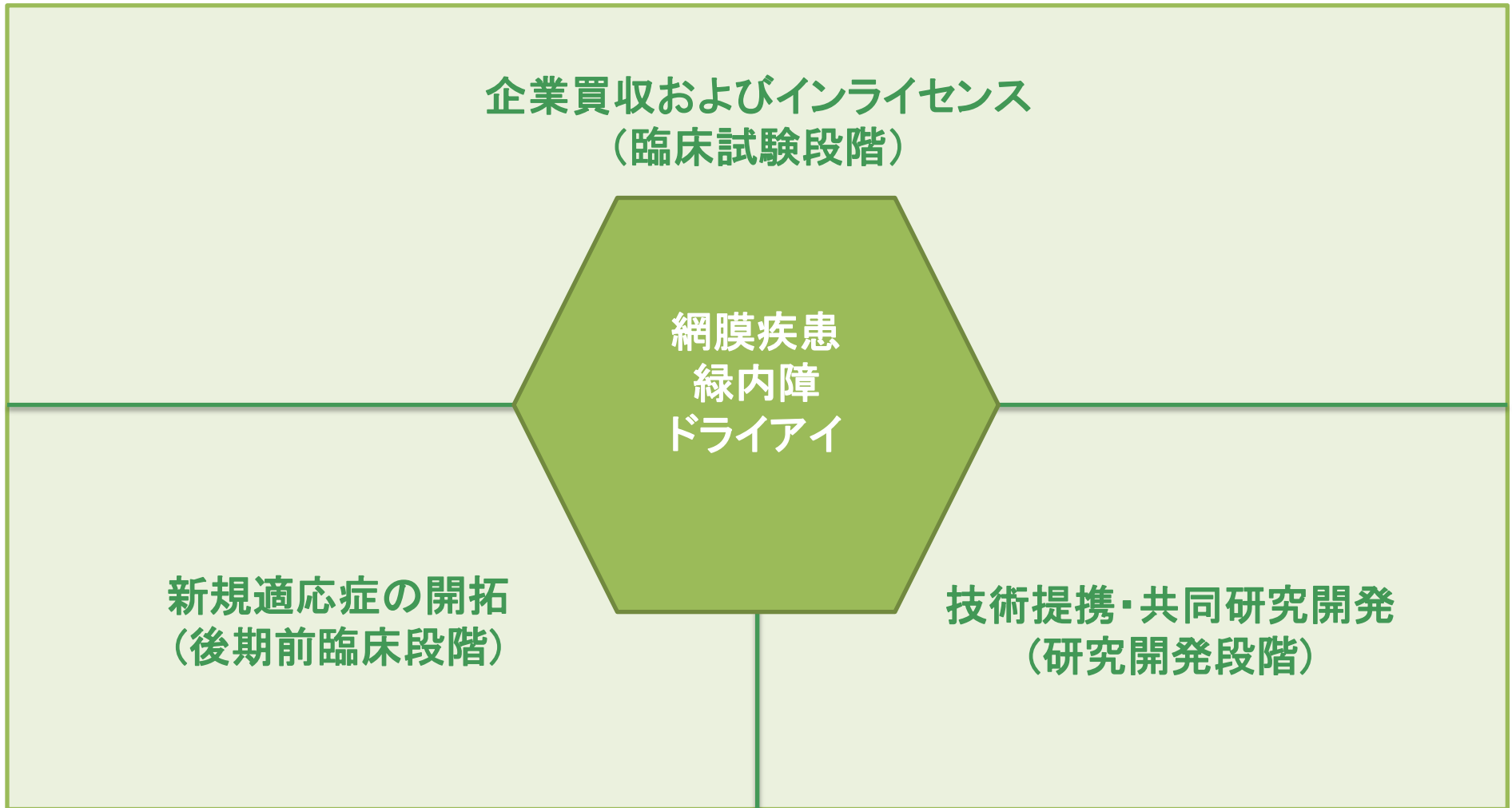


- 「エミクススタト塩酸塩」
- 「OPA-6566」

- 社内研究開発の強化

- グローバル化、企業価値の向上

# 2015年の戦略的フォーカス



# 2015年戦略的事業計画の概要



## 当社は、眼科製品の革新的なポートフォリオの更なる開発を目指します

- 「エミクススタト塩酸塩」と「OPA-6566」の開発において大塚製薬と提携
  - 「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2b/3相試験は予定通りに継続
  - 緑内障の潜在的治療薬であるアデノシンA2a受容体アゴニストである「OPA-6566」に関する次の段階についての評価を実施
- 当社領域内の「エミクススタト塩酸塩」のパートナーシップ提携に向けた取り組みを開始
  - 主にヨーロッパを対象としてエミクススタト塩酸塩契約に基づくアウトライセンスの取り組みを開始する予定
- 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
  - 糖尿病性網膜症または糖尿病性黄斑浮腫など他の適応症を対象とした「エミクススタト塩酸塩」の開発可能性について評価を実施
  - 糖尿病性網膜症を対象とする「エミクススタト塩酸塩」の開発可能性を評価するために、2015年に臨床前の動物モデル実験を開始し、完了させることを予定
- 社内研究、合併買収、新規パートナーシップまたはインライセンスを通じ眼科製品パイプラインを確立

# パートナーシップ



# 大塚製薬との提携概要



## 大塚製薬とは、安定且つ長期的な関係を維持

治療薬候補	適用疾患	商業化権	財務に係わる概要
エミクススタト塩酸塩 (開発：当社)	<ul style="list-style-type: none"> <li>ドライ型加齢黄斑変性</li> <li>その他眼科適応症</li> </ul>	<p>共同（50／50）－北米</p> <p>当社単独－欧州、南米、アフリカほぼ全域</p> <p>大塚製薬単独－アジア太平洋、中東および北アフリカの一部</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>大塚製薬は当社に対して、5百万米ドルの前払い金を提供</li> <li>大塚製薬は当社に対して、最大258百万米ドルのマイルストーンを提供</li> <li>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</li> </ul>
OPA-6566 (開発：大塚製薬)	<ul style="list-style-type: none"> <li>緑内障</li> <li>その他眼科適応症</li> </ul>	米国	<ul style="list-style-type: none"> <li>今後の開発方針に関しては、これらの追加試験の結果を踏まえた上で評価検討する予定</li> </ul>

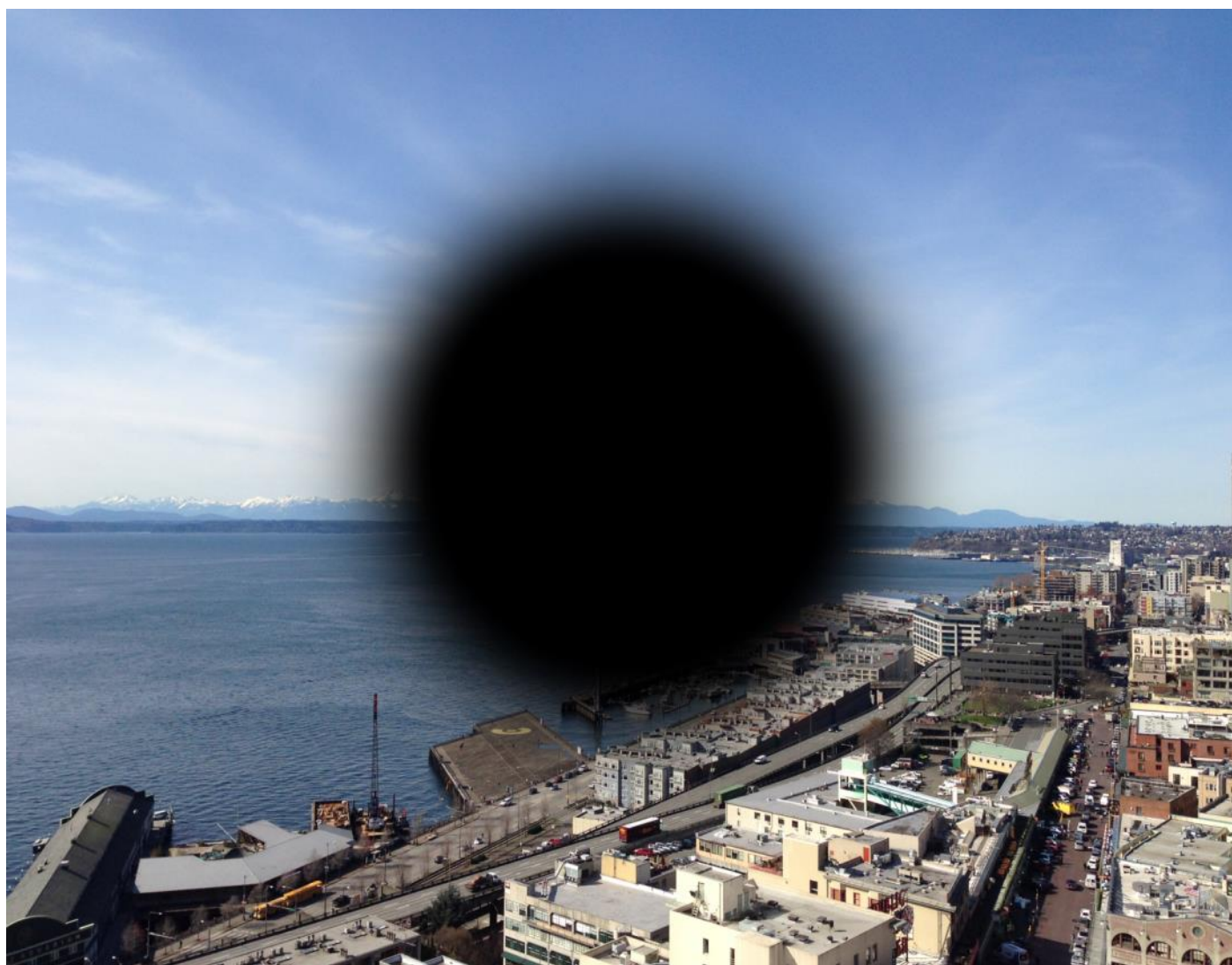
## 技術

「エミクススタト塩酸塩」

地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性の治療薬候補



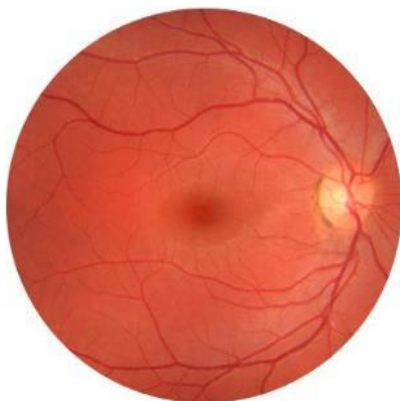
# 加齢黄斑変性による中心視力障害



# 加齢黄斑変性のしくみ



正常な網膜



ドライ型加齢黄斑変性  
(ドルーゼン)

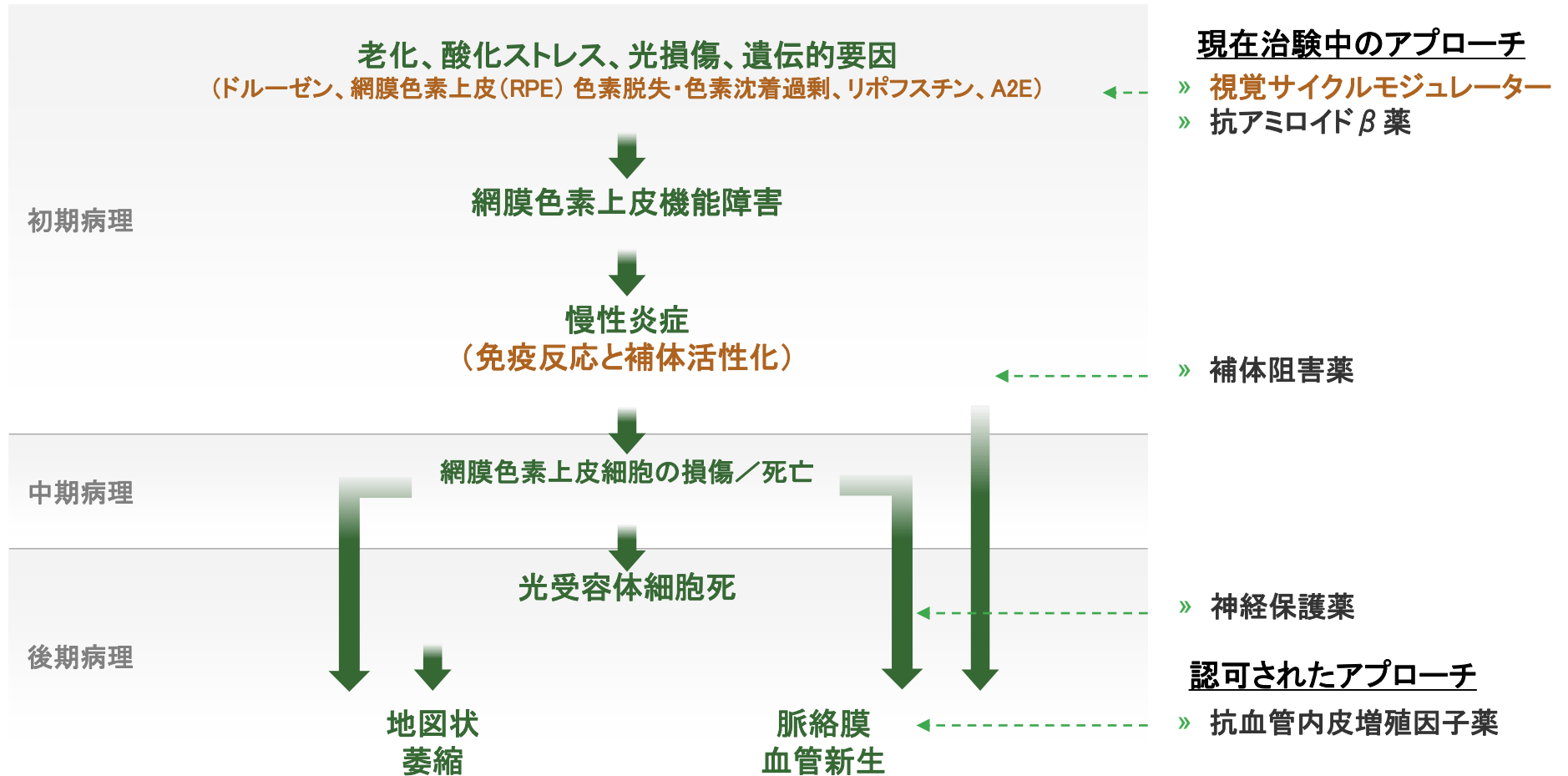


後期ドライ型加齢黄斑変性  
(地図状萎縮型)



ウェット型加齢黄斑変性  
(滲出型)

# 加齢黄斑変性症 (AMD): 病態仮説とそのアプローチ

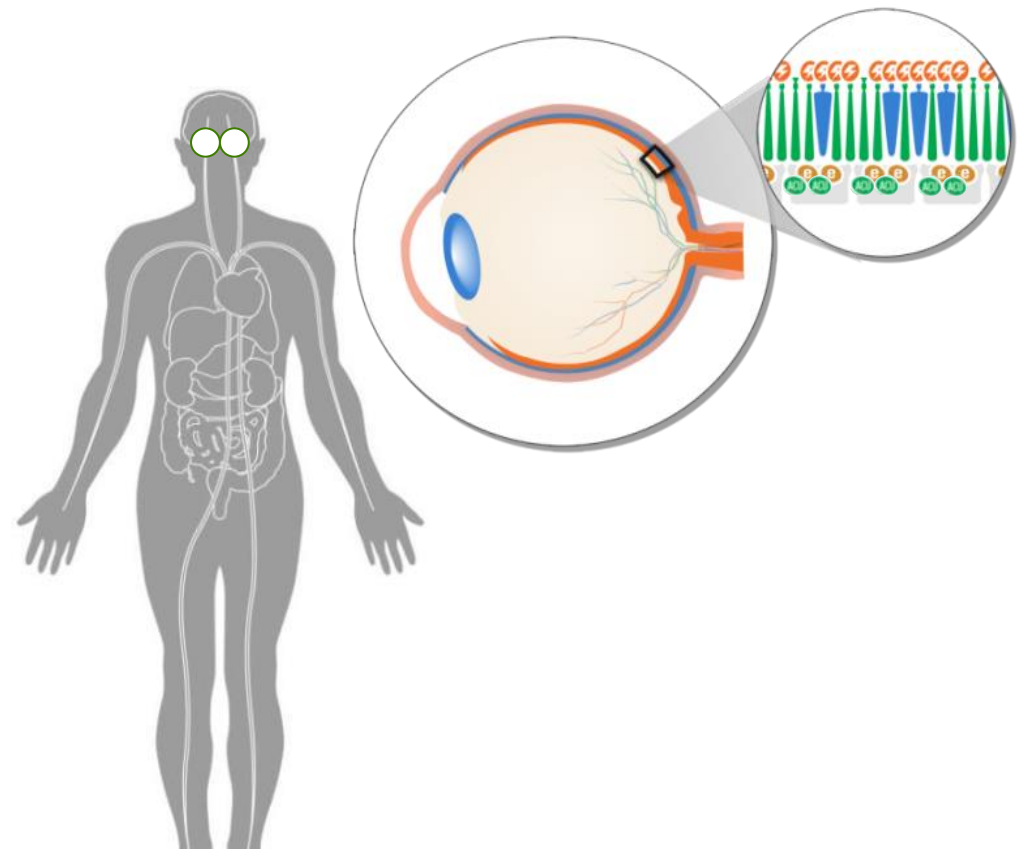


出典: Kanda A. et al, Inflammation in the pathogenesis of AMD. Br J Ophthalmol 2008; 92: 448-450

# 「エミクススタト塩酸塩」の概要



- 非レチノイド<sup>(1)</sup> 低分子化合物<sup>(2)</sup>
- 経口投与が可能
- 視覚サイクル活動を減少させることにより、網膜に蓄積する有害副産物の生成を抑制
- 視覚サイクルを制御している網膜内の主要酵素（RPE細胞）に作用
- エレクトロレチノグラム（ERG）を通して、網膜内での生物学的効果の測定が可能<sup>(3)</sup>



(1) 非レチノイド: 全身に存在しているビタミンA核内受容体であるレチノイン酸受容体には作用せず、レチノイド特有の副作用が無い  
(2) 低分子化合物: 高分子化合物と比較すると、非常に小さい分子化合物。低分子化合物は、その構造ゆえ細胞膜に浸透しやすい性質を持つ  
(3) エレクトロレチノグラム(ERG)とは、網膜電図検査のことで、網膜の働きが正常かどうかを調べる検査

# 「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候補  
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

2016

- » 臨床第2b/3相試験開始
- » 投与期間2年の試験

- » 臨床第2b/3相試験トプラインデータの発表予定

(注)IND (Investigational New Drug)とは新薬臨床試験開始を指します。

(注)GA(Geographic Atrophy)とは地図状萎縮を指します。

# 臨床試験の概要



- 完了した臨床試験
  - 5件の臨床第1相試験実施(健常者)
  - 臨床第2a相試験実施(GA患者対象)
  - 合計179例の被験者に「エミクススタト塩酸塩」を投与
- 現在実施中の臨床試験－臨床第2b/3相試験(「シアトル試験」)
  - 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、「エミクススタト塩酸塩」の有効性と安全性をプラセボと比較する、無作為化<sup>(1)</sup>、二重盲検用量範囲の2年間の探索試験
    - 合計508名の地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象に実施
  - 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
      - 脈絡膜新生血管(ウェット型加齢黄斑変性)に対する効果
  - 今後のマイルストーン
    - 当該24ヶ月の臨床試験のトップラインデータ<sup>(2)</sup>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](http://www.clinicaltrials.gov)。

(2) トップラインデータ－トップラインデータとは、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う。

# 知的財産戦略



視覚サイクルモジュレーション技術および「エミクススタト塩酸塩」に関わる知的財産を取得し、特許ポートフォリオを戦略的に強化

2015年3月31日現在	エミクススタト塩酸塩 に関わる特許		視覚サイクルモジュレーション技術 に関わる特許		その他 特許	合計
	北米	北米外	北米	北米外		
地域						
取得特許	3	11	12	40	51	117
出願特許	2	53	10	92	24	181
特許失効期限	2029	2028-2033	2028-2034	2028-2034		

- 特許ポートフォリオの強化により企業価値の強化を図る
- 上記特許には、物質組成特許および用途特許が含まれる

## 財務概要

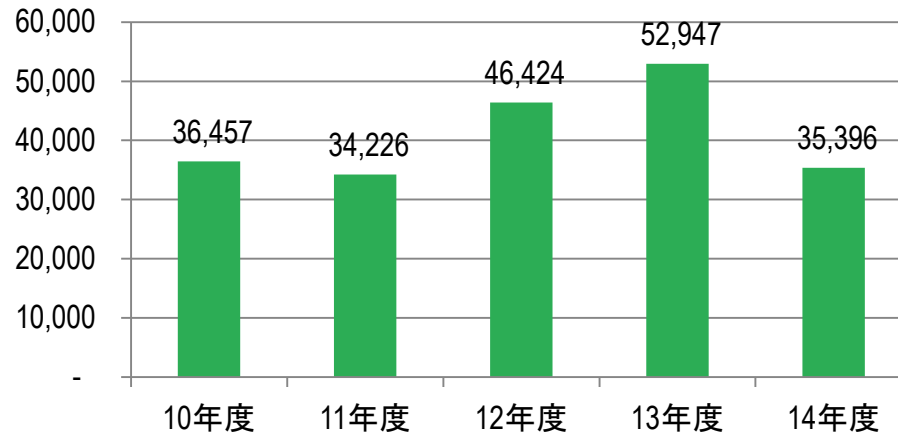


# 財務概要

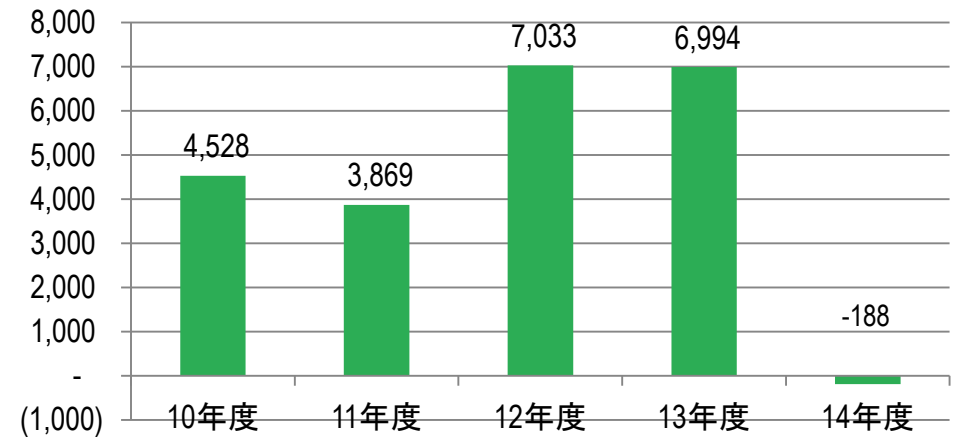


(単位:千米ドル)

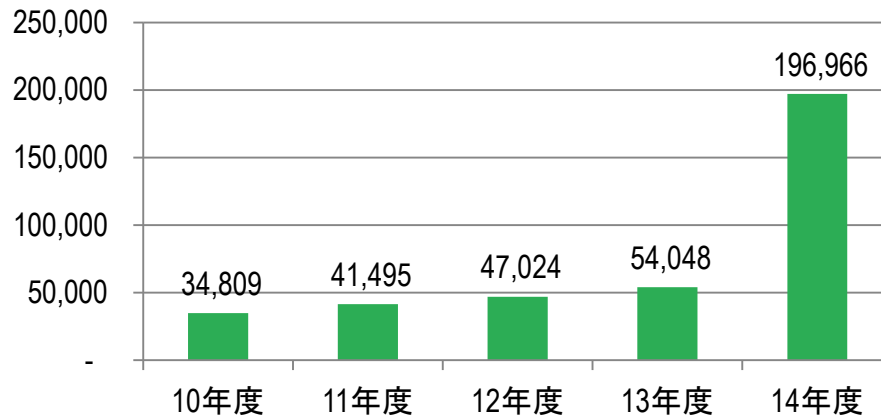
### 提携からの収益



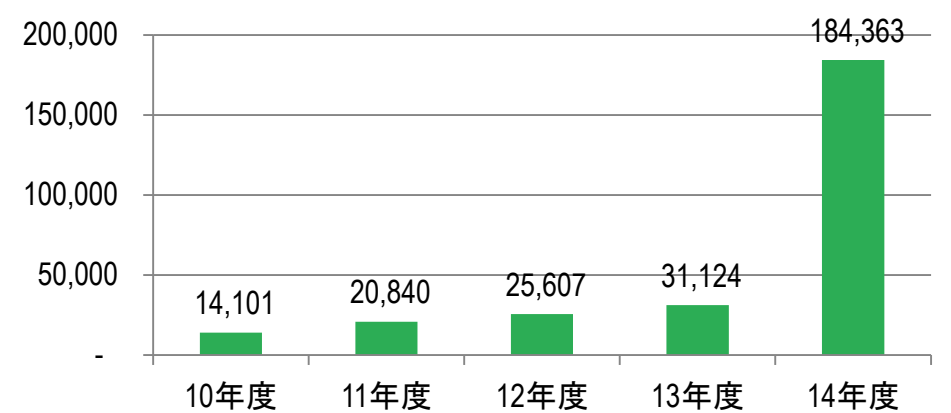
### 営業利益



### 資産合計



### 株主資本合計



(注)2010年度は未監査

# まとめ



# 投資ハイライト



- 人材と戦略
  - ヘルスケア、ライフサイエンスおよびテクノロジー分野において、豊富なキャリアをもつ経営陣
  - パイプラインの拡大を可能とする戦略的事業計画
- パートナーシップ
  - 大塚製薬との強固な提携関係
  - 安定した資金を享受することが可能な提携関係
- 技術
  - 経口投与が可能なユニークな作用機序を持つ視覚サイクルモジュレーション技術を有した「エミクススタト塩酸塩」
    - 臨床第2b/3 相試験を実施中<sup>(1)</sup>
    - 大きな潜在市場を持つアンメット・メディカルニーズ  
(地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象)
    - 包括的で競争優位性のある特許ポートフォリオ
      - 117件の取得済み特許:181件の出願特許<sup>(2)</sup>
- 財務内容
  - 既存プログラムの継続、事業開発および社内研究開発に対する十分な資金

(1) ClinicalTrials.gov identifier: NCT01802866

(2) 2015年3月31日現在

# 主要メディア掲載例



- **日刊薬業**  
加齢黄斑変性治療の候補薬、P2a試験で好結果 アキュセラ・インク（2015年6月5日掲載）
- **日経バイオテク**  
米Acucela社窪田氏、「企業買収や導入でパイプラインの拡充図る」（2015年5月21日掲載）
- **日経デジタルヘルス**  
Acucela社の窪田氏が語る、革新を導くベンチャーの魅力と姿勢（2015年2月17日掲載）
- **Medical Science Digest 2014年11月号**  
視覚サイクルの調整:ドライ型加齢黄斑変性に対する新薬理学的アプローチ（2014年10月20日掲載）
- **週刊東洋経済・東洋経済Online**  
バイオのアキュセラが米国で起業したワケ（2014年5月16日掲載）
- **朝日新聞**  
（あの人とこんな話）成長には痛みが伴うが筋トレ同様、鍛えられる（2014年4月15日掲載）
- **日経新聞**  
「重い目の病に飲み薬」東証単独上場初の米企業に（2014年3月25日掲載）
- **週刊ダイヤモンド**  
米国で起業しマザーズ上場 目のアルツハイマーを治す（2014年2月24日掲載）
- **TBS「夢の扉+」ドキュメンタリー**  
放送) 世界の1億2000万人を“失明の危機”から救え！ 日本人トップイノベーターが挑む “不治の病”の治療薬開発（2013年10月27日）
- **ウォール・ストリート・ジャーナル**  
世界を変える日本人—シアトルで起業した窪田良氏が挑む難病治療薬（2013年3月29日掲載）
- **PRESIDENT Online**  
＜経営者の言葉:アキュセラCEO・窪田 良＞開眼！「朝令暮改」仕事術（連載中）

その他プレスは、当社ウェブサイトをご参照ください：[www.acucela.jp](http://www.acucela.jp)



アキュセラは、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。

