



2019年12月9日

各位

会社名 窪田製薬ホールディングス株式会社  
代表者名 代表執行役会長、社長兼最高経営責任者  
窪田 良  
コード番号 4596 東証マザーズ  
問合せ先 取締役兼執行役最高財務責任者  
前川 裕貴  
(TEL : 03-6550-8928 (代表))

「エミクススタト塩酸塩」の網膜変性疾患に対する治療効果に関する論文が  
「Drug Discovery Today」誌に掲載されました

窪田製薬ホールディングス株式会社（本社：東京都千代田区、以下「当社」）は、当社の100%子会社アキュセラ・インク（本社：米国ワシントン州、以下「アキュセラ」）が開発している治療薬候補である「エミクススタト塩酸塩」（以下、「エミクススタト」）の網膜変性疾患に対する治療効果に関する論文が、創薬関連情報を掲載する学術雑誌「Drug Discovery Today」に掲載されたことをお知らせいたします。

記

掲載誌 : Drug Discovery Today  
題名 : “Pharmacotherapy for Metabolic and Cellular Stress in Degenerative Retinal Diseases”  
「網膜変性疾患の主要原因である網膜の代謝要求や細胞ストレスを抑制する働きのある薬物療法について（訳）」  
本文 : <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1359644619304556>

本研究の内容と意義

本稿では、視覚サイクルを調節する働きがあるエミクススタトが網膜の代謝を軽減するとともに細胞ストレスを抑制し、網膜変性疾患などの病気の進行抑制に関与している内容が掲載されています。視覚サイクルによって生成される有害代謝産物の蓄積や網膜内の低酸素状態が、スターガルト病や糖尿病網膜症といった網膜疾患の発症原因と考えられています。当社の研究結果をもとに、エミクススタトの薬理作用がこれらの網膜疾患に対して効果が期待できることが述べられています。

当社の代表執行役会長、社長兼最高経営責任者で眼科医でもある窪田良博士は次のように述べています。「当社グループが開発している治療薬候補のエミクススタトに関する記事が本誌に掲載されたことを大変喜ばしく思います。本稿では、エミクススタトの客観的な研究結果に基づき、様々な網膜疾患治療の可能性を説明しております。このような可能性をさらに追求し、より積極的にパートナー企



業を模索しつつ、いち早く患者様のお手元にお届けできるよう努力してまいります。」

エミクススタトは経口投与可能なスターガルト病の新規治療薬候補として、2018年11月に多施設共同無作為化プラセボ対照二重盲検比較試験である臨床第3相試験を開始しました。本試験における主要評価項目は、プラセボに対するエミクススタトのスターガルト病患者における黄斑部の萎縮の進行を抑制する効果の検証で、副次的評価項目には最良矯正視力のスコアや読速度などの視機能の変化が含まれます。(本臨床試験内容は、米国臨床試験登録・公開サイト [Clinicaltrials.gov](http://Clinicaltrials.gov) に掲載されています。ID番号：NCT03772665)

#### エミクススタトについて

眼球の奥にある網膜には、脳に映像を認識させるために光を電気信号に変える働きをする「視覚サイクル」と呼ばれる仕組みがあります。この視覚サイクルは、明るい光や強い光にさらされると有害代謝産物を生成します。これが長期にわたり消化されないまま蓄積されると、視覚サイクルの働きに支障をきたすだけでなく、網膜自体が損傷され、視力低下あるいは失明にいたると考えられています。

網膜には、こうした有害代謝産物の前駆物質を分解する際に活躍する ABCA4 という遺伝子があります。スターガルト病はこの ABCA4 遺伝子の異常により、網膜にビタミン A 由来の有害代謝産物が過剰に蓄積されることで網膜内の細胞が損傷を受け、最終的には視機能障害をきたすと考えられています。

エミクススタトは、視覚サイクルに不可欠な酵素である RPE65 を抑制することで、視覚サイクルを調節し、ビタミン A の代謝率を低下させます。これにより、スターガルト病の発症に関与すると考えられているビタミン A 由来の有害代謝産物の産生が低下するため、網膜の機能維持に有用であると理論づけられています。

以上

#### 窪田製薬ホールディングス株式会社について

当社は、世界中で眼疾患に悩む皆さまの視力維持と回復に貢献することを目的に、イノベーションをさまざまな医薬品・医療機器の開発及び実用化に繋げる眼科医療ソリューション・カンパニーです。当社100%子会社のアキュセラ・インク(米国)が研究開発の拠点となり、革新的な治療薬・医療技術の探索及び開発に取り組んでいます。当社独自の視覚サイクルモジュレーション技術に基づく「エミクススタト塩酸塩」においては、糖尿病網膜症およびスターガルト病への適応を目指し、開発を進めております。また、網膜色素変性における視機能再生を目指す遺伝子療法の開発や、在宅・遠隔医療分野(モバイルヘルス)における、クラウドを使った医療モニタリングデバイス(PBOS)の研究開発なども手掛けております。

(ホームページアドレス：<http://www.kubotaholdings.co.jp>)

#### 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。

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。