



事業計画 及び  
成長可能性に関する事項

窪田製薬ホールディングス  
東証マザーズ（証券コード：4596）  
2021年11月

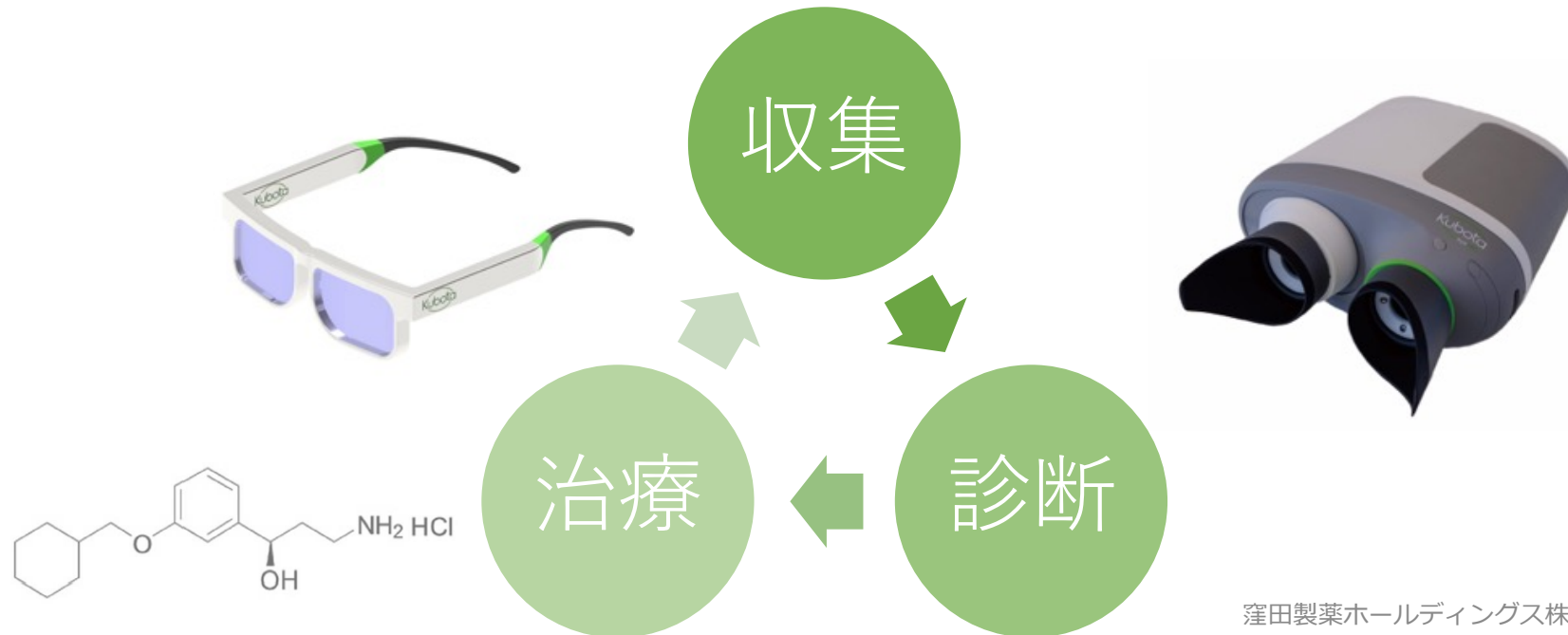


## ➤ ビジネスモデル

- 経営理念
- 研究開発パイプライン
- ビジネスモデル

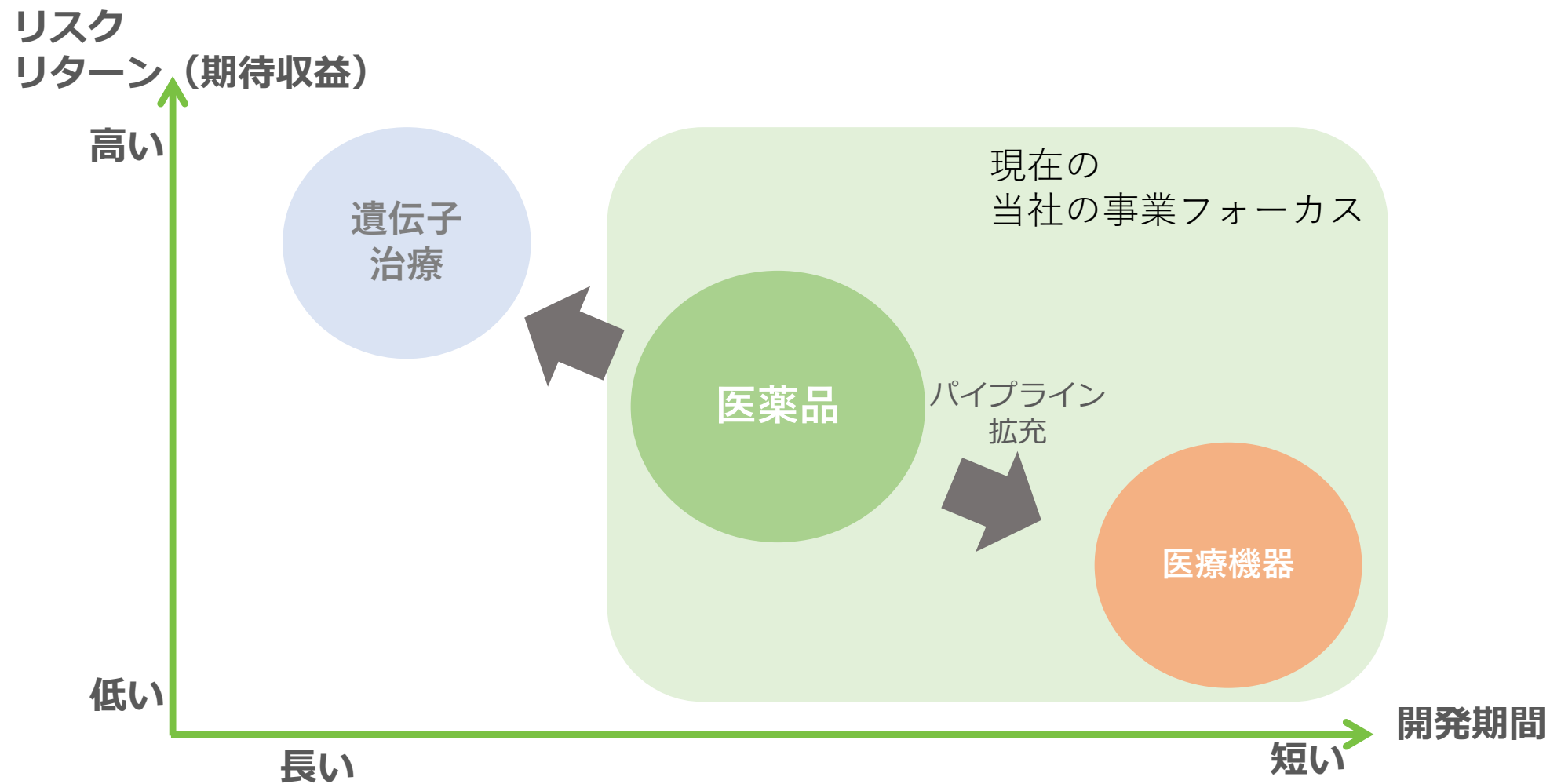
## 世界から失明を撲滅する ～医療のデジタル化を推進する～

- 最先端のサイエンスを活用し、有効な治療法がない眼疾患に医療革新をもたらす
- ウェアラブルデバイスから得られる新たなバイタルデータを世界中から収集
- データを活用し、新薬開発・病気の診断・予防・治療を行う
- 収集から活用までのエコシステムを構築し、眼科領域のビックデータカンパニーを目指す



# パイプライン戦略

- 医薬品開発・遺伝子治療に加えて、近年は比較的開発期間が短い医療機器事業に注力
- リスク・リターン特性の異なる事業を組み込むことにより、パイプラインのリスク低減と企業価値の増大を図る



# 研究開発パイプライン

スターガルト病適応のエミクススタト塩酸塩は、第3相臨床試験継続中  
ウェアラブル近視デバイスは2021年中の商用化を目標に、投資を強化

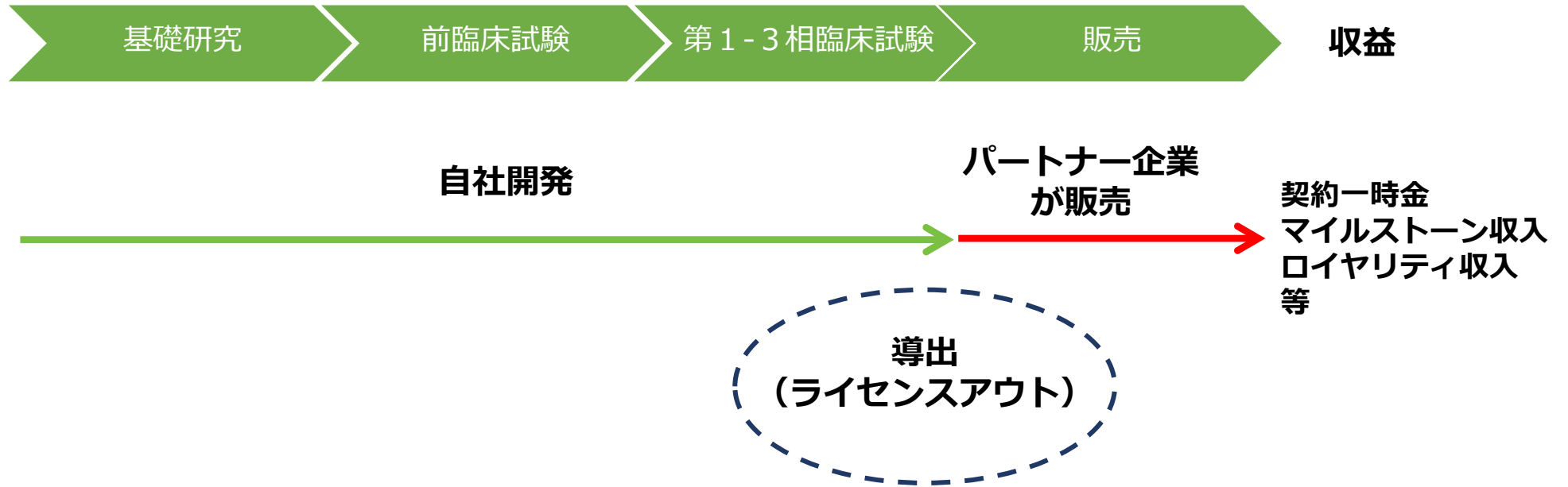
低分子化合物	適応症	前臨床	第1相	第2相	第3相	support
エミクススタト塩酸塩	スターガルト病					米国食品医薬品局 Orphan Products Clinical Trials Grants Program
	増殖糖尿病網膜症					
デバイス	詳細	デザイン 及び プロトタイプ	臨床試験 及び 製品開発	承認・認証 510(k)	support	
在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite	超小型モバイルOCT (網膜、光干渉断層撮影機器)					
	NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス				NASA 有人火星探査 プロジェクト	
ウェアラブル近視メガネ	クボタメガネ				MVA* ニューヨーク州立大学 ダブリン工科大学	

遺伝子治療については、今後の投資を保留することで現金支出を抑制し、  
経営資源を開発後期にある他のプロジェクトに重点的に配分する方針としました。  
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

# 窪田製薬グループのビジネスモデル - 開発・収益化戦略のイメージ

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

## 1. 医薬品



シーズ探索から開発  
までを自社で行い、  
その後他社に導出

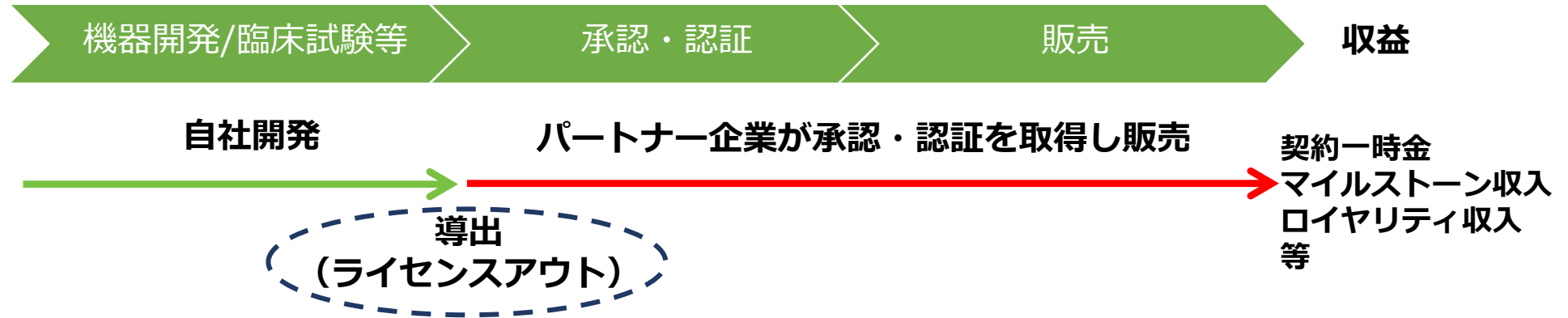
# 窪田製薬グループのビジネスモデル - 開発・収益化戦略のイメージ

医療機器においてもパートナー事業への導出を基本戦略としつつ、一部自社販売も視野に

## 2. 医療機器

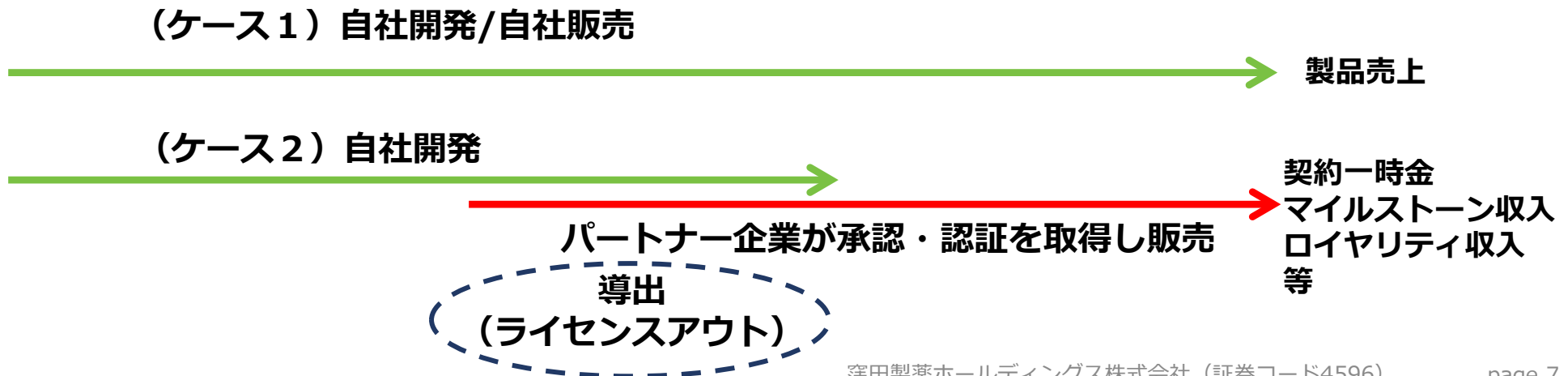
### 在宅・遠隔眼科医療用 網膜モニタリング機器

市販用プロトタイプの開発までを自社で行い、他社に導出



### ウェアラブル 近視デバイス

独自の技術をもとに自社開発を進め、商品化もしくは他社に導出



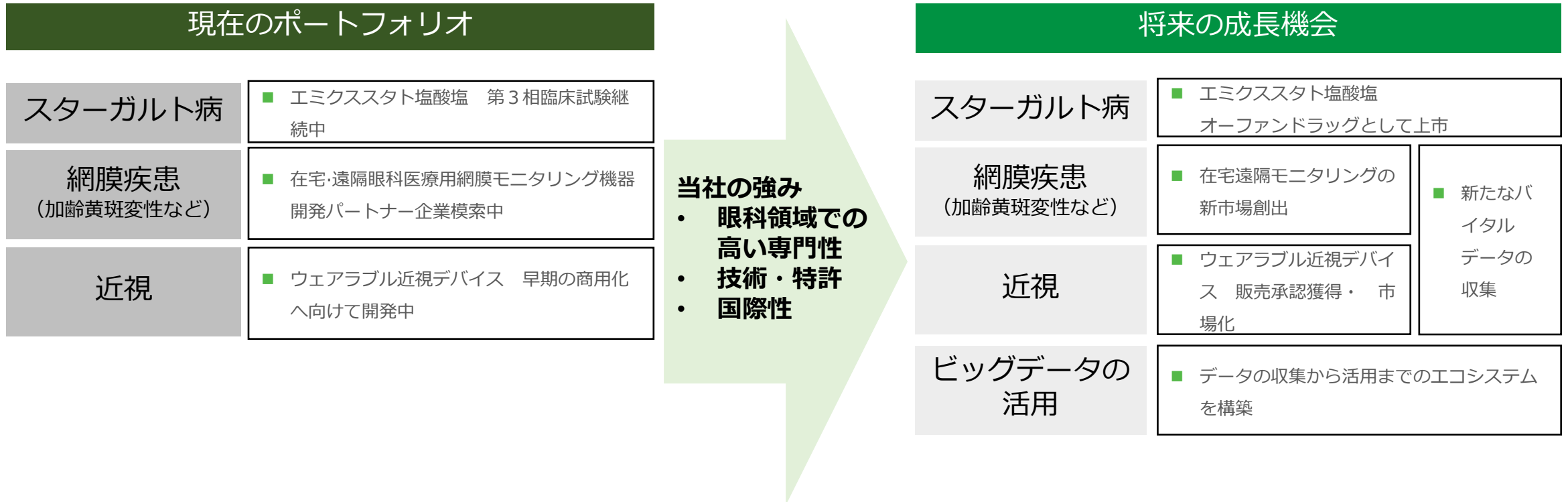
## ➤ 事業計画

- 成長戦略
- 進捗状況
- リスク情報



# 成長戦略

- ・ 大きなリターンが見込める自社開発の化合物エミクススタト塩酸塩をコア開発品として、臨床試験を継続
- ・ 市場規模の大きい近視デバイスの早期の市場化を実現することで販売実績やデータの蓄積を行い、欧米・日本などの主要マーケットでの販売承認の獲得・市場化を目指す
- ・ 自社開発のデバイスを通じて収集したデータを活用し、新薬開発や病気の診断・予防・治療に役立てるためのエコシステムを構築する



# 経営戦略と重要な経営指標

先行投資期間が長い研究開発型企业として、当社では、将来の収益化へ向けたパイプライン開発の進捗及び現有資金残高を重要な経営指標とみている

現状、積極的な研究開発に必要な約2年分の事業資金を確保（2021年9月末時点）。今後の開発資金は必要に応じて新規調達などで確保予定。計画的にパイプラインの上市を目指し、収支バランスの改善・収益拡大を目指す

	～2020	2021	中期（2022～2024）	長期（2025～）
	医療機器事業の確立によるパイプラインの拡充		複数パイプラインの導出・市場化	次代の主要パイプラインの確立・投資
収入	主に上場時の調達資金を開発費に充当 第三者割当（2020年7月開始）による調達	第三者割当（2020年7月開始）による調達継続	導出品および市場化による収入 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	医療機器事業を中心に、開発費が増加  <u>エミクススタト塩酸塩</u> 2020/5 第三相臨床試験被験者登録完了  <u>PBOS</u> 2020/ 7 初期型試作機完成  <u>近視メガネ</u> 2020/ 8 効果検証 2020/12 初期型プロトタイプ完成  <u>遺伝子治療</u> 前臨床試験の継続	研究開発費用がピークを越える  <u>エミクススタト塩酸塩</u> 第三相臨床試験継続  <u>PBOS</u> 機能改善に絞った投資  <u>近視メガネ</u> 台湾ソフトローンチ  <u>遺伝子治療</u> 今後の投資を保留し現金支出を抑制	導出による開発費の減少  <u>エミクススタト塩酸塩</u> 2022後半 データベースロック 導出へ向けた交渉の本格化  <u>PBOS</u> パートナー企業との共同開発  <u>近視メガネ</u> 2022後半 グローバル治験開始 2024後半 CEマーク承認	資金状況に応じ、新たなパイプラインの前臨床・臨床試験の開始 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 など

# 事業計画

単位：百万円	事業収益	営業利益	税引前利益	当期利益
2021年度（予想）	+10	△2,900	△2,800	△2,800
2020年度（実績）	+38	△2,484	△2,437	△2,437

※ 想定為替レート：1米ドル=105円

## ● 事業収益

- ウェアラブル近視デバイスの売上等

## ● 営業利益（損失）

### ➤ 研究開発費

- ウェアラブル近視デバイス：商業化へ向けた研究開発を継続
- エミクススタト塩酸塩：スターガルト病を対象とした第3相臨床試験を継続
- PBOS：量産型試作機の機能改善やソフトウェア改良に重点を絞った開発を継続

### ➤ 一般管理費

- ウェアラブル近視デバイス：商業化関連費用の増加

# 直近のパイプラインの進捗と現状

		現在						
低分子化合物	適応症	2019年 以前	2020年 上半期	2020年 下半期	2021年 上半期	2021年 下半期	2022年 上半期	2022年 下半期
エミクススタト塩酸塩	スターガルト病	第3相臨床試験 開始 ◆	第3相臨床試験 被験者登録完了 ◆				第3相臨床試験 投薬期間完了 ◆	データベース ロック ◆
エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症	第2相臨床試験 結果 ◆						
デバイス	詳細	2019年 以前	2020年 上半期	2020年 下半期	2021年 上半期	2021年 下半期	2022年 上半期	2022年 下半期
在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite	超小型モバイルOCT (網膜、光干渉断層撮影機器)	臨床試験 完了・達成 ◆		量産型試作機 完成 ◆				
	NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス	契約締結 ◆	フェーズ1 完了 ◆					
ウェアラブル近視メガネ	クボタメガネ		ウェアラブルデバイス 概念実証 (POC) 達成 ◆	メガネ型 プロトタイプ 完成 ◆			ソフト ローンチ ◆	グローバル治験 開始 ◆

# 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
研究開発	<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>
副作用 (製造物責任)	<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>
知的財産権	<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業にとって、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
<b>研究開発資金の調達</b>	<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>
<b>製造</b>	<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>
<b>商業化</b>	<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及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>■ 販売及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、自社単独で販売及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>

## ➤ パイプラインの内容

- エミクススタト塩酸塩
- 在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器
- ウェアラブル近視デバイス



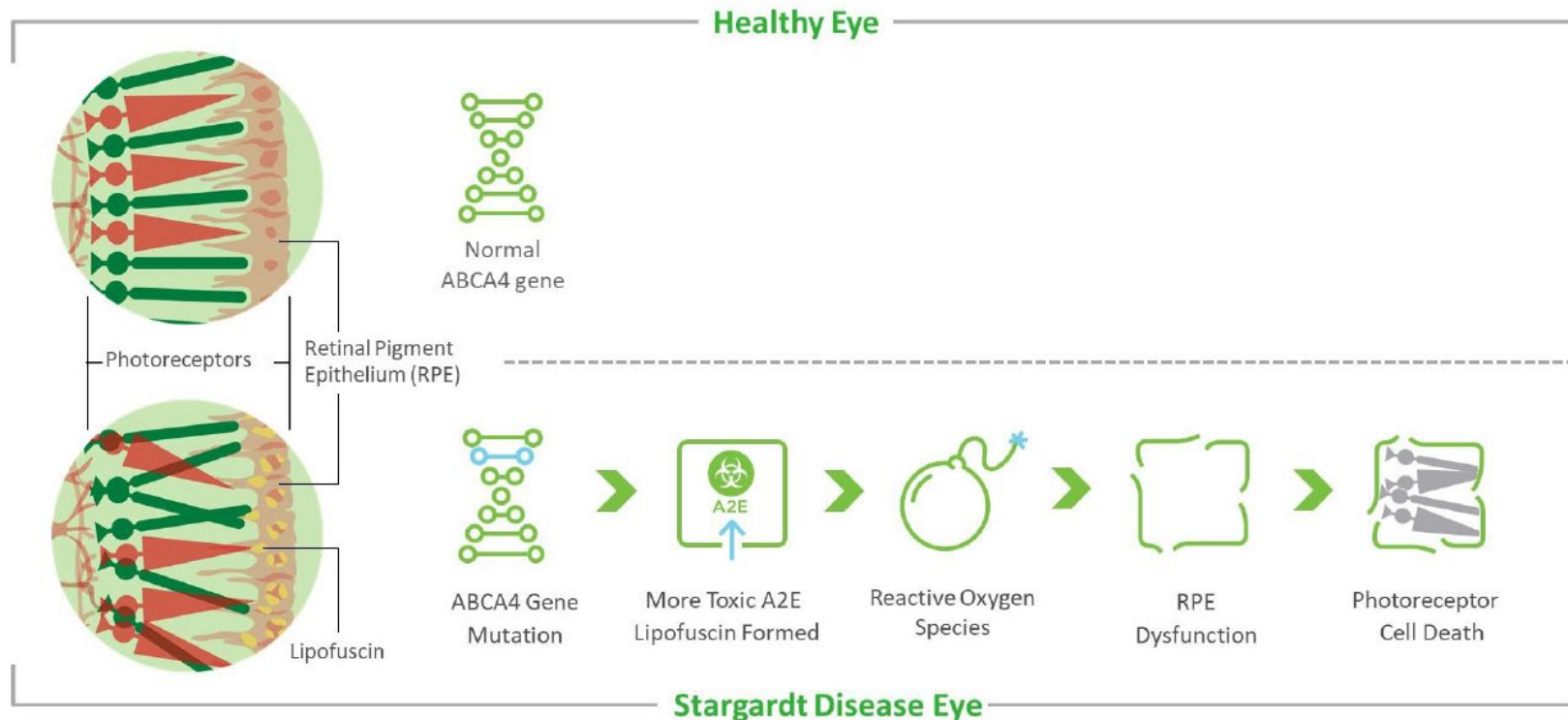
エミクススタト塩酸塩





# 適応症：スターガルト病

- 千人から1万人に1人の割合で発症する稀少疾患。
- ほとんどの患者の視力は0.1以下に低下\*
- 網膜中のABCA4遺伝子の突然変異により、光を感じる働きを司る「視覚サイクル」によって生じた有害代謝産物が、長期にわたり消化されないまま蓄積されることで発症すると考えられている
- 現在、有効な治療法がない



\*両眼で緩やかに進行する中心暗転、色覚障害、周辺視野に障害をきたすなど様々な症例がある

# 想定市場規模

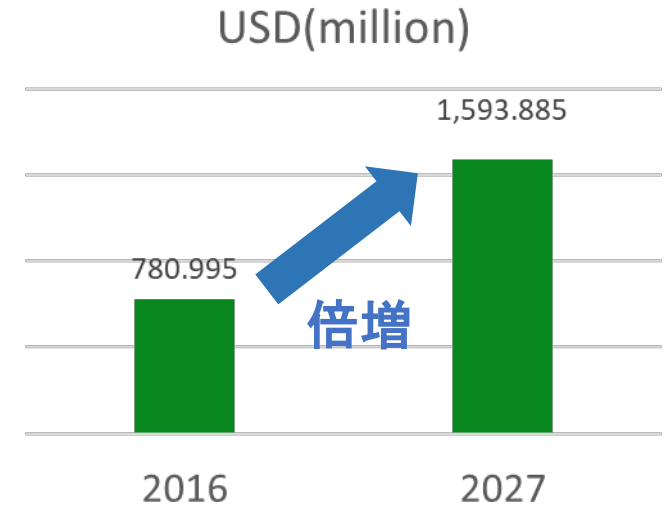
- 日本、米国、欧州で15万人弱\*の患者がいると推定

\*Market Scope, 2015 report on the Retinal Pharmaceuticals & Biologics Market; UN World Population Prospects 2015

- 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\*

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

- オーフアンドラッグは、市場を問わず、高い薬価がつきやすい傾向にある
- 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



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

# 当社のエミクススタト塩酸塩の特長

- 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
- スターガルト病の新薬候補のうち、第3相臨床試験まで進んでいるものは当社のエミクススタト塩酸塩のみ
  - 探索段階も含め約30件がパイプライン上にあるとみられるが、臨床段階にあるものは8件
  - 第2相臨床試験中のものが6件あるが、これらが第3相試験に進む前に、エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験が終了する可能性が高い

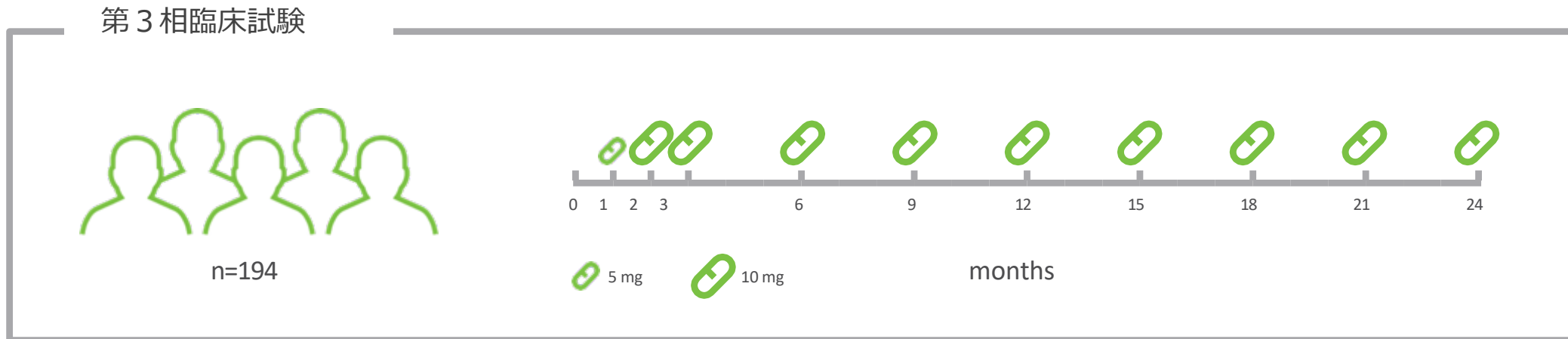
## 第2相・第3相臨床段階にあるスターガルト病の新薬候補

(2021年10月時点)

Product	Stage	Company	Description
Emixustat hydrochloride	PIII	Kubota Vision Inc.	Visual cycle modulator; oral
ALK-001	PII	Alkeus Pharma	Chemically modified, deuterated vitamin A; oral
Avacincaptad pegol sodium	PII	IVERIC bio Inc.	Avacincaptad pegol; C5 inhibitor; intravitreal injection
Jcell	PII	jCyte Inc	Stem cell therapy; intravitreal injection
Soraprazan	PII	Katairo GmbH	Gastric H, K-ATPase inhibitor; oral
STG-001	PII	Stargazer Pharma	Undisclosed MoA; oral
tinlarebant	PII	Belite Bio Inc	oral

Total Pipeline n=30 (including clinical stage, preclinical stage and discovery stage)

# 現在の開発ステータス：第3相臨床試験を継続中



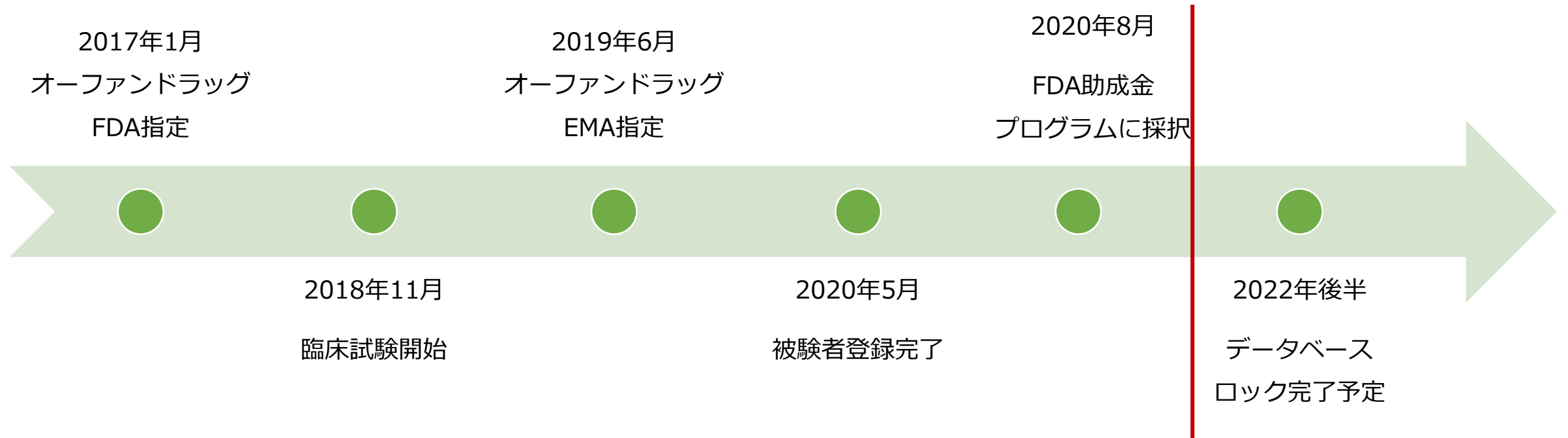
無作為化、プラセボ対照、二重盲検比較試験

被験者をランダムに10mgのエミクススタト投与群とプラセボ群に2対1で割り当て1日1回の経口投与にて24ヶ月間実施

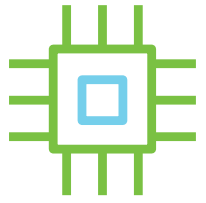
- 2020年5月1日付リリース 被験者登録数完了  
最終的に世界11カ国\*、29施設において194名の被験者を登録(当初の被験者登録目標数は162名)
- 2017年1月に米国食品医薬品局(FDA)、2019年6月に欧州医薬品庁(EMA)よりオーファンドラッグ指定を取得
- FDA助成金プログラム(Orphan Products Clinical Trials Grants Program)に採択
- 第3相臨床試験 2022年Q3以降に終了予定
- 結果が良好であれば、上市へ向けた承認申請を行う (FDA、EMA)

\* 米国・カナダ・ブラジル・南アフリカ・英国・フランス・スペイン・イタリア・オランダ・ドイツ・デンマークの11カ国

# 開発スケジュール



- 現在、大手製薬会社など10社以上とパートナー契約の交渉を進めているが、多くの企業は、第3相臨床試験の結果次第で交渉を進める意向
- 一部の企業とは、第3相臨床試験の結果が出る前に、国と地域を限定したライセンス契約について協議中

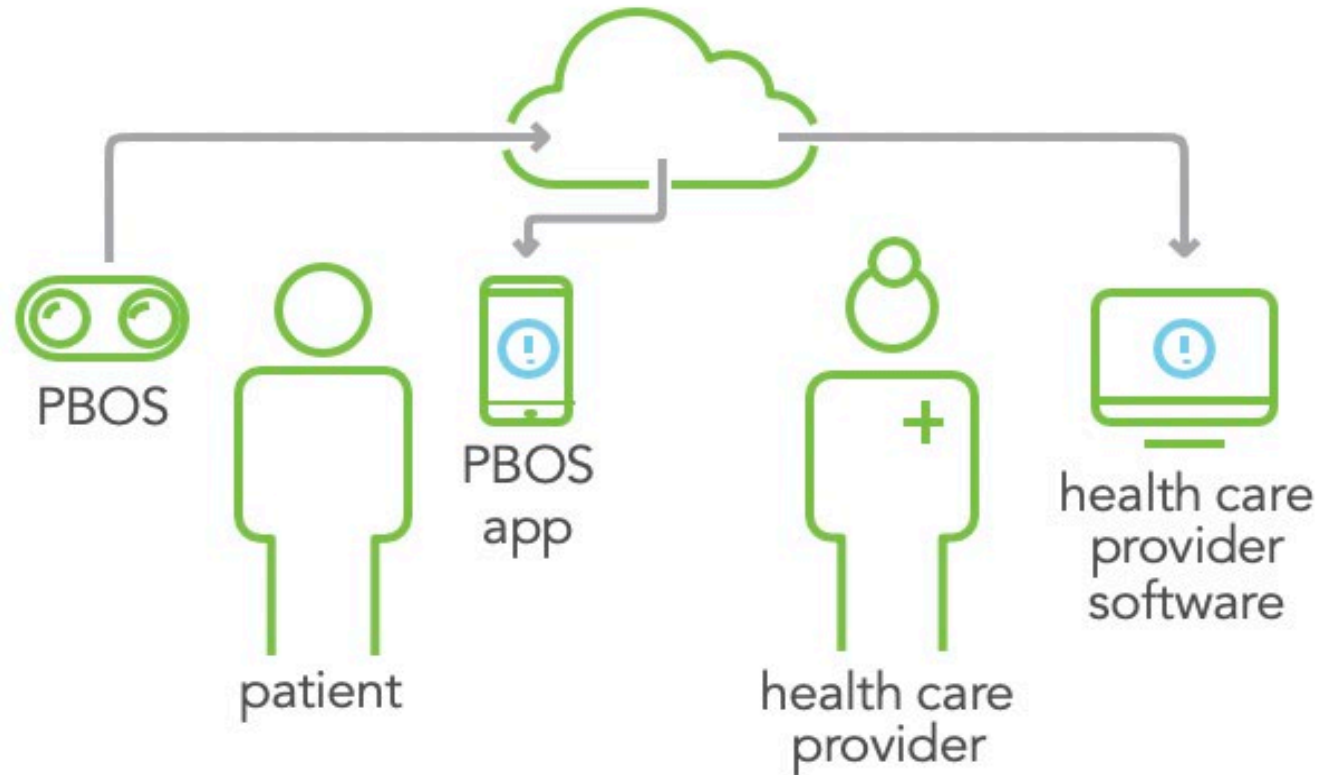


在宅・遠隔眼科医療用網膜  
モニタリング機器



# 在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 (PBOS)

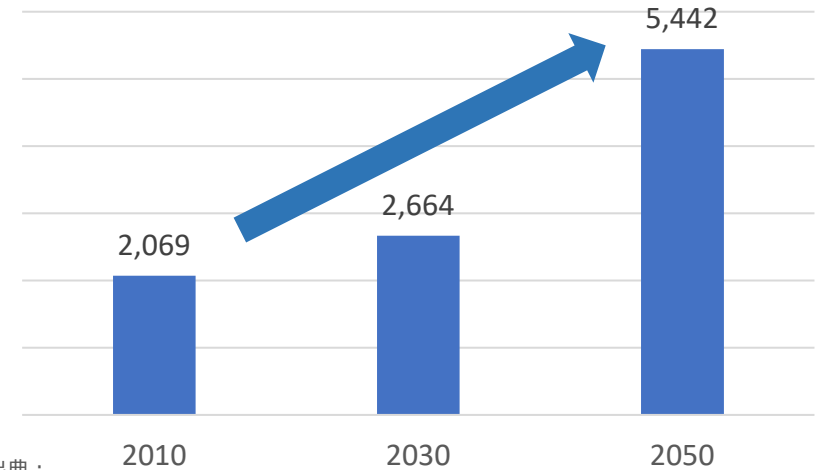
眼科で網膜の状態の検査に用いられる光干渉断層計 (OCT) の超小型モデル  
5Gネットワークを活用し、在宅での検査とモニタリングが可能  
目疾患の進行を検知し、通院しないと検査ができないなどの治療負担を軽減



# 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。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
- AMD患者の10%ほどがウェット型AMDとみられている

米国のAMD患者数予測（千人）



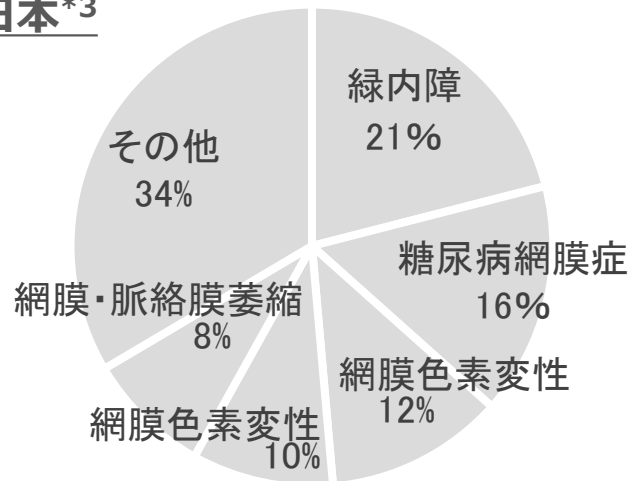
出典：

\*1 Market Scope, The Global Retinal Pharmaceuticals & Biologic Market, 2015

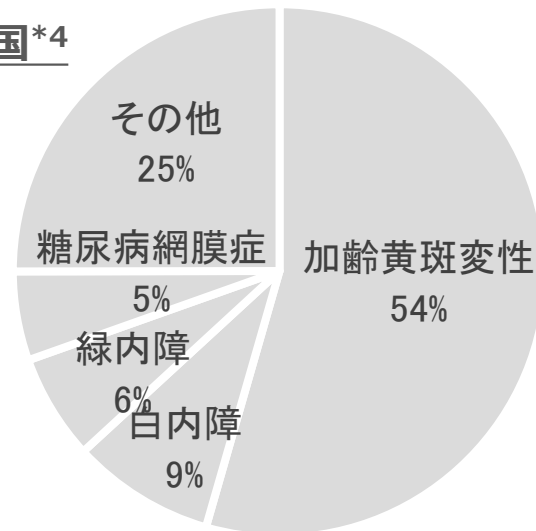
\*2 US National Eye Institute, 2019

## 失明の主要原因<日本、米国、欧州>

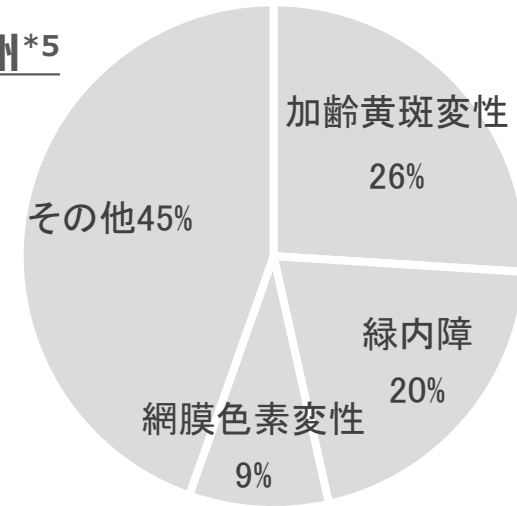
日本\*3



米国\*4



欧州\*5



出典：\*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)



# 当社のPBOSの特長と競合

- 安価でポータブルな測定機器：在宅での眼科医療モニタリングが可能
- ウェット型AMDなど、抗VEGF薬の眼内注射治療が必要な疾患では、視機能の維持のため、継続的な注射治療と網膜のモニタリングが必要

## 網膜疾患治療の第一選択肢は眼内注射：

- 高い薬価(1本薬15万円)
- 繰り返し投与が必要
- 適切な投与タイミングが患者と異なる  
視覚患者ごとに最適な治療をするには網膜の状態をタイムリーに観察することが必要

薬を適切なタイミングで投与することができない



OCT検査を受けられる場所が限られる



## 網膜の観察には画像診断装置である光干渉断層計(OCT)が用いられる：

- 高価な機器(1,000万円以上)
- 的確に読影するには専門医の知識が必要



安価でポータブルな測定機器が存在すれば、タイムリーな診察が可能となり、患者ごとに最適な治療が達成出来る

- 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。

# 米国における在宅遠隔眼科医療による四方良しの仕組み

## 患者



- 診断医療費/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
- 十分に医者がない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

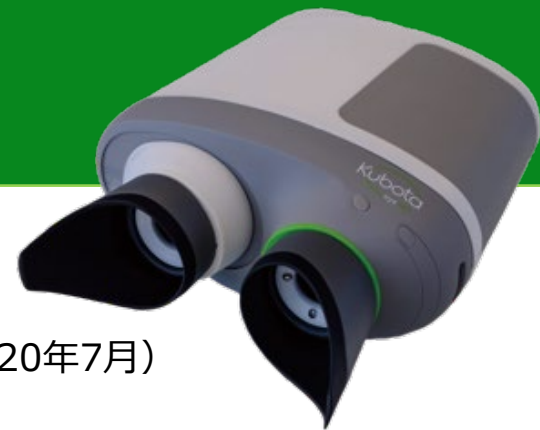


- 医療費の削減
- 最先端医療を提供することができる

## 製薬会社



- 販売機会の喪失の軽減に繋がる
- 効果の証明

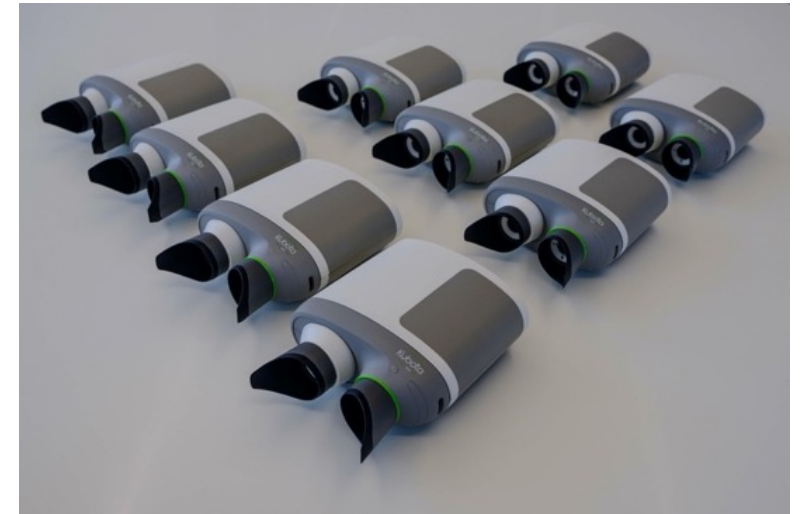


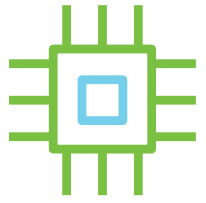
米国では、在宅OCT活用推進に向け、被保険者が医療費の還付を受けるために必要なCPTコードが、在宅OCT用にも承認・確立されている(2020年7月)

# 現在の開発ステータス：量産型試作機完成

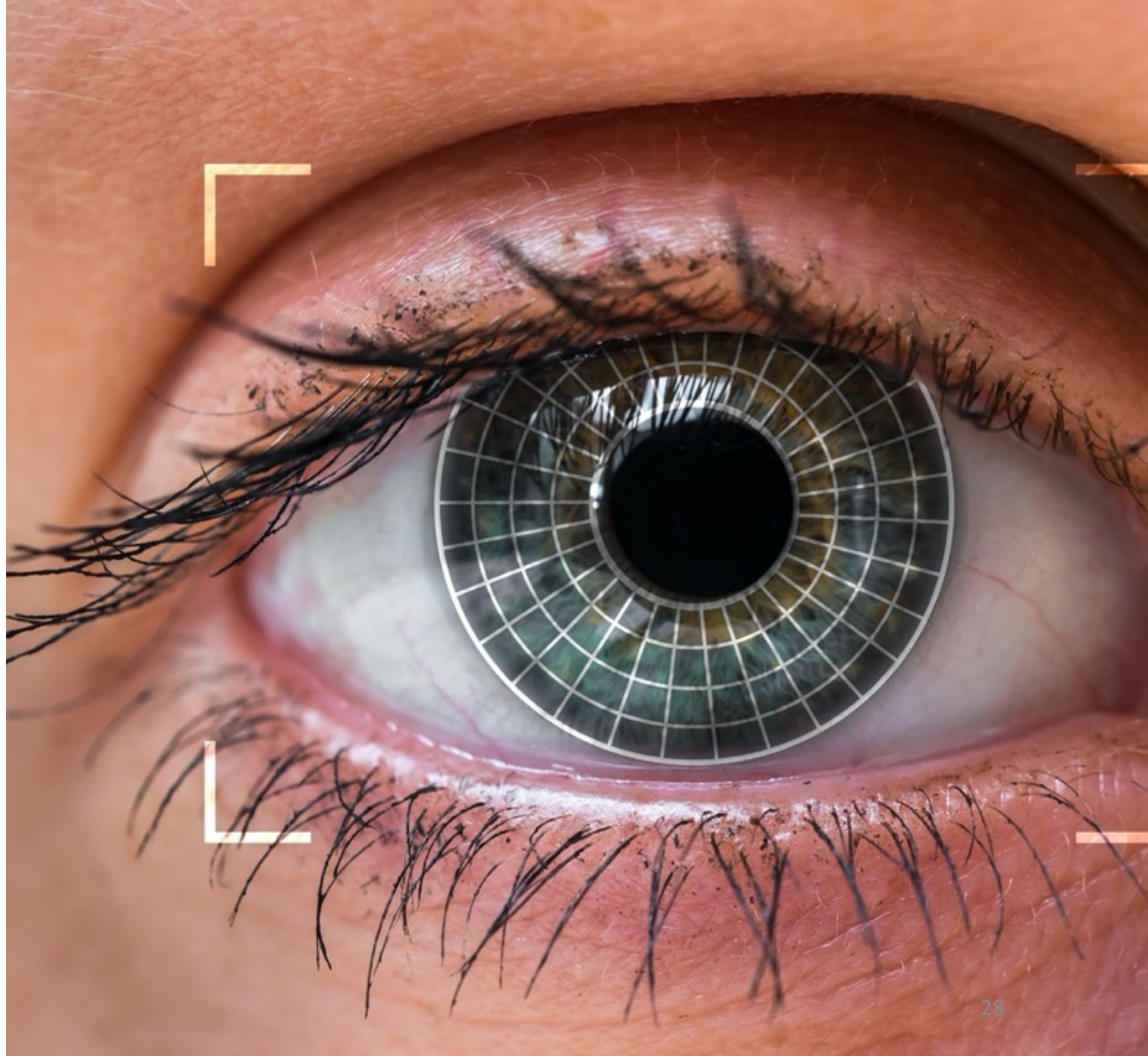
量産型試作機が完成、改良を継続中

- 量産型試作機（初期型）完成
- 網膜の浮腫を捉える機能の向上を図るため、ソフトウェアの開発は継続して実施
- 機能向上の一環としてAI（人工知能）を活用した3D生成機能などのソフトウェア改良を推進
- Insel Gruppe AG 眼科大学病院（スイス）と共同研究契約締結。改良後の試作機で臨床試験を実施し、実際の患者でデータを取得
- パートナー企業との共同開発、商業化の可能性を模索





# ウェアラブル近視デバイス



# ウェアラブル近視デバイス「クボタメガネ」

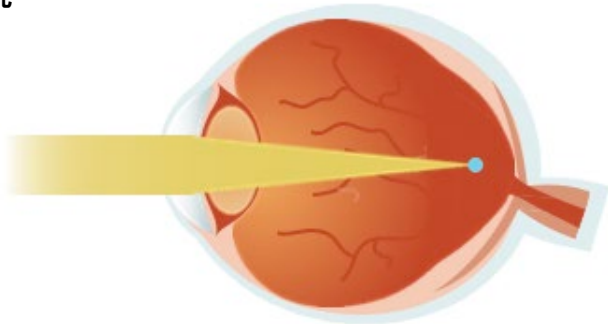
- 当社独自のアクティブステイミュレーション技術を活用して、近視の進行抑制を目指すデバイス
- 人工的な光を投影することで、網膜周辺部を刺激し、近視の原因の一つとされる眼軸長の伸展を抑制する
  - 周辺網膜の手前に焦点が合うように画像を投影すると、網膜を内側に移動させる成長信号が生成され、近視の進行が阻害される (Benavente-Perez A, IOVS 2014)
- 2020年、卓上デバイス、およびウェアラブルデバイスにおいてPOC（概念実証）を確認
- 2020年末、初期型プロトタイプ完成
- 2021年5月、台湾にて医療機器の製造許可を取得。2021年内に商業化を目標に開発を進めている
- 将来的には、AR 機器・VR 機器への応用も期待される



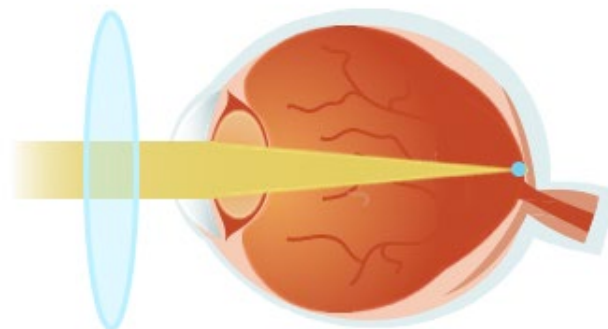
## 想定ユーザーの疾患：近視

- 近視は、屈折性近視、軸性近視、偽近視、核性近視などに区分されるが、その多くは軸性近視と診断され、眼軸が伸展することによりおこるとされる
- 近視の進行により、他の眼科疾患を引き起こす可能性が高い
- 現在は、屈折矯正（メガネ・コンタクトレンズ・屈折矯正手術）により、光の屈折を調整し、焦点を網膜に合わせることが一般的であり、眼軸長を短縮させるような根本的な治療法はない

近視



屈折矯正



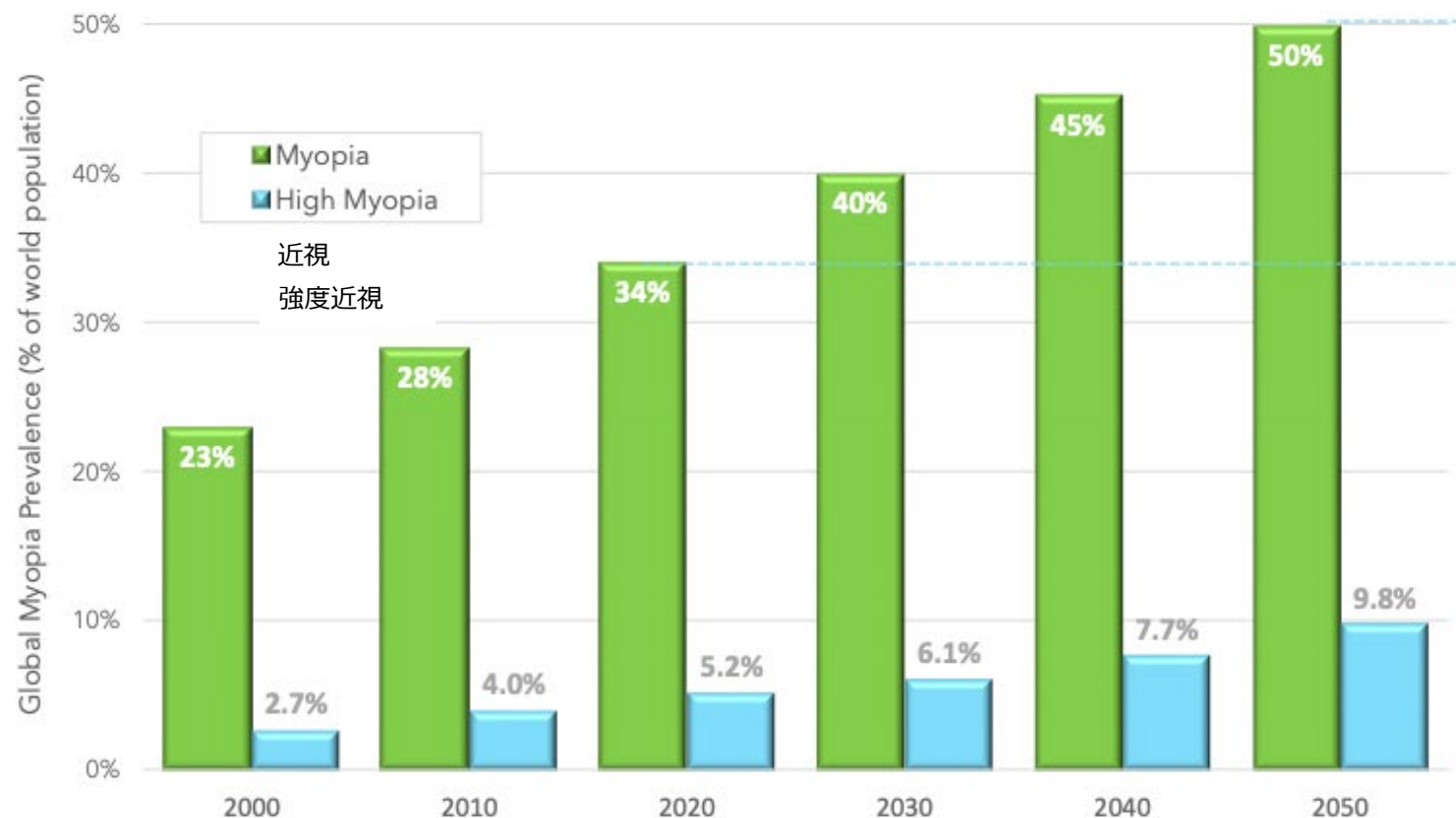
近視の進行により合併リスクが高まる疾患

疾患	正視と比較した近視の二次性眼疾患の合併リスク		
	-2.00D	-5.00D	-8.00D
網膜分離症	2.2倍以上	40.6倍以上	126.8倍以上
網膜剥離	3.1倍以上	9.0倍以上	21.5倍以上
白内障	2.1倍以上	3.1倍以上	5.5倍以上
緑内障	2.3倍以上	3.3倍以上	5.0倍以上

Eric Ritche, OD, PhD. Myopia Increases the Risk of Serious, Sight-Threatening Eye Disease. Review of Myopia Management

# 想定市場規模

➤ 近視人口は、今後も急速に増加し続けると予想されている



## 強度近視

早い速度で成長する近視

The Impact of Myopia and High Myopia. Report of the Joint World Health Organization-Brien Holden Vision Institute Global Scientific Meeting on Myopia. March 2016.

# 当社のクボタメガネの特長

レンズに当社独自のナノテクノロジーを組み込み、積極的に眼を刺激



※製品イメージ

- 従来のARデバイスを医療応用
- アクティブスティミュレーションという、網膜に人工的な光刺激を与えて近視の進行抑制を目指す当社独自の技術
- すでにFDA(米国食品医薬品局)にも認められた製品の理論的根拠である「myopic defocus」という網膜の周辺部をぼかすことにより、近視が抑制されるという現象を応用
- 従来製品が受動的な刺激を用いていたのに対して、当社では、ナノテクノロジーを駆使して能動的に特殊な映像を網膜周辺部に投影することにより、より短い時間で、より自然な見え方を維持
- 6歳以上の使用を想定
- メガネ型であるため、子供でも使いやすい



# 既存の近視矯正・治療方法との比較

- 近視への対応は、メガネ、コンタクト、レーシックなどによる屈折矯正が一般的
- 近年、一部の国と地域では、近視の進行抑制が確認された製品が販売されている
- 多焦点レンズを使い、網膜周辺部に届く画像をボカす製品はすでにFDA承認済（MiSight）
- 当社のクボタメガネは、人工的な光を用いて網膜周辺部にボカした画像を投影するもの。より自然な見え方で、適切な時間・明るさで画像を投影することが可能



## メガネ

## コンタクトレンズ

## レーシック

## アトロピン

点眼薬、近視進行が抑制される  
用法や人により効果が異なる

## オルソケラトロジー

睡眠時にハードコンタクトレンズを着用し角膜の形状を変える  
眼に直接装用するため、角膜への負担大きい

## 特殊（多焦点）レンズ

外からの光を屈折させることで網膜を刺激  
・MiSight（コンタクトレンズ）：  
FDA承認済  
・MyoSight, MyoVision（メガネ）

## クボタメガネ

人工的な光を網膜に投影することで、網膜を刺激する

# 現在の開発ステータス

## ➤ 2020年

5月：卓上デバイスでの概念実証試験において効果を確認

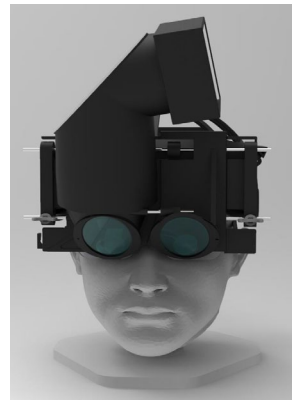
8月：ウェアラブルデバイスにおいても同様の効果検証が完了

12月：初期型のプロトタイプが完成

## ➤ 2021年

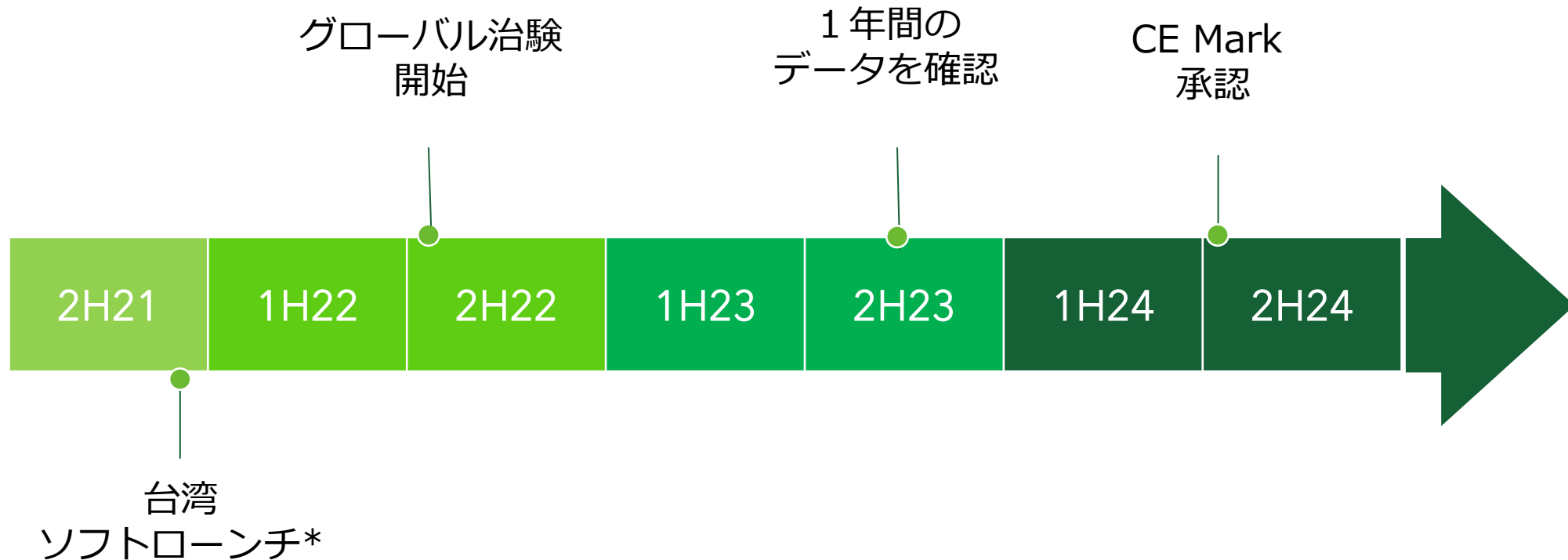
商業化へ向けた開発およびデザイン改良を継続中

販売に関する承認取得後、  
製造についてはCMO、  
販売については現地パートナー企業  
との協業にて  
販売網を構築予定



# クボタメガネ 3 年上市計画

- まずは2021年後半に台湾でソフトローンチ予定。その後、各国の規制当局と交渉を進めていく



\* 製造から販売、配送、アフターケアまでのプロセスにおけるトラブルシューティング 及びマーケットフィットの検証を目的に行うローンチ

## ➤ 参考資料

- 会社概要
- 代表プロフィール
- 論文実績
- 特許
- 研究開発拠点

# 会社概要 窪田製薬グループ

**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、  
最先端のサイエンスを基に眼科領域に医療革新をもたらす企業**

名称 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 東京都千代田区霞が関3-7-1 霞が関東急ビル 4F  
代表者 代表執行役会長、社長兼最高経営責任者 窪田 良 MD, PhD  
子会社 クボタビジョン・インク (米国ワシントン州シアトル市)

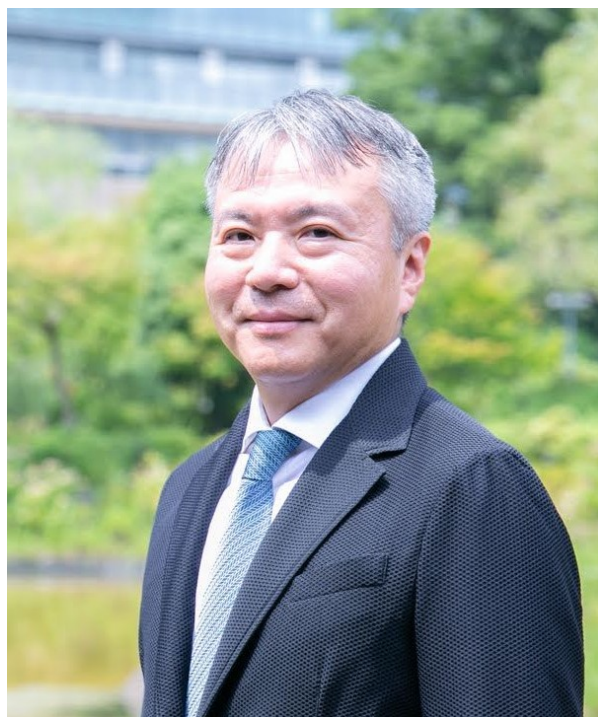
2002年4月 クボタ・ビジョンを設立 (米国ワシントン州シアトル市)  
2006年3月 本社および研究所を米国ワシントン州ボセル市に移転  
2006年8月 東京都品川区に東京オフィスを開設  
2013年9月 東京都渋谷区に東京オフィスを移転  
2014年2月 東京証券取引所マザーズ市場へ外国企業として上場  
2015年12月 東京都渋谷区に国内子会社設立  
2016年12月 国内子会社を親会社、アキュセラ・インクを完全子会社とする三角合併を経て、  
窪田製薬ホールディングス株式会社が、内国企業として東京証券取引所マザーズ市場へテクニカル上場



# 代表プロフィール

窪田良（くぼた りょう）

代表執行役会長、社長兼最高経営責任者




- 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 アキュセラ・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

# 論文実績

Journals & Books

Get Access Share Export



Drug Discovery Today

Available online 3 December 2019

In Press, Corrected Proof

Review Foundation

Pharmacotherapy for m

ARVO | JOURNALS

Search... All Journals

iovs **investigative ophthalmology & visual science**

ISSUES TOPICS FOR AUTHORS ABOUT

OPEN ACCESS

Retina | November 2019

## Emixustat Reduces Metabolic Dark Activity in the Retina

Ryo Kubota; David J. Calkins; Susan H. Henry; Robert A. Linsenmeier

Investigative Ophthalmology & Visual Science November 2019, Vol.60, 4924-4930.

November 2019 Volume 60, Issue 14

Click here to try the New PubMed!

RETINA THE JOURNAL OF RETINAL AND VITREOUS DISEASES

Articles & Issues Supplements Collections Videos For Authors Journal Info

Log in to view full text. If you're not a subscriber, you can:

Buy Article Subscribe Content & Permissions

Ovid Institutional members access full text with Ovid

Article Level Metrics

44

Tweeted by 38 On 1 Facebook pages Picked up by 1 news outlets 44 readers on Mendeley

ORIGINAL STUDY

### PHASE II, RANDOMIZED, PLACEBO-CONTROLLED, 90-DAY STUDY OF EMIXUSTAT HYDROCHLORIDE IN GEOGRAPHIC ATROPHY ASSOCIATED WITH DRY AGE-RELATED MACULAR DEGENERATION

Dugel, Pravin U. MD<sup>1</sup>, Novack, Roger L. MD, PhD<sup>2</sup>, Calkins, Karl G. MD, PhD<sup>2</sup>, Richmond, Preston P. MD<sup>3</sup>, Birch, David S. PhD<sup>4</sup>, Kubota, Ryo MD, PhD<sup>1</sup> **Author Information**

RETINA, June 2019 - Volume 39 - Issue 6 - p 1073-1183

Send to

Future Science

JOURNALS BOOKS ABOUT US CONTACT US

BIOANALYSIS, VOL. 7, NO. 16 | RESEARCH ARTICLE


## Bioanalysis of emixustat (ACU-4429) in whole blood collected with volumetric absorptive microsampling by LC-MS/MS

Zhixin Miao<sup>1</sup>, James G. Farnham<sup>1</sup>, Glenn Hanson<sup>1</sup>, Terry Podoll<sup>1</sup> & Michael J Reid<sup>1</sup>

Published Online: 1 Sep 2019 | <https://doi.org/10.4155/bio.19.125>

View Article Tools Share

**Background:** A method to quantify emixustat (an investigational drug agent) in human blood collected using volumetric absorptive microsampling (VAMS) could be more practical for sample collection at sites with limited facilities for processing and storage of plasma. **Methods:** A LC-MS/MS method was developed and evaluated for accuracy and precision, linearity, carryover, selectivity, recovery, matrix effects, hematocrit effects and stability. **Results:** Core validation parameters met acceptance criteria within the normal ranges of hematocrit levels for adults (30–55%). Stability of emixustat in blood collected with and without anticoagulant (NaF/KOx) on the VAMS device at ambient, refrigerated and frozen conditions was established. **Conclusion:** The method has been validated and is suitable for the bioanalysis of emixustat in human blood collected by VAMS.



Vol. 7, No. 16

Follow us on social media for the latest updates

Advanced version of PubMed is now available. See the new improvements to the interface!

Send to

Hindawi

## Mediators of Inflammation

Journal overview For authors For reviewers For editors Table of Contents

Mediators of Inflammation / 2020 / Article

On this page

- Abstract
- Introduction
- Materials and Methods
- Results
- Discussion
- Conclusion
- Data Availability
- Conflicts of Interest
- Acknowledgments

Research Article | Open Access

Volume 2020 | Article ID 3270513 | 9 pages | <https://doi.org/10.1155/2020/3270513>

### Comparison of Inhibitor and Substrate Selectivity between Rodent and Human Vascular Adhesion Protein-1

Ryo Kubota<sup>1,2</sup>, Michael J. Reid<sup>1</sup>, Kuo Lee Liu<sup>1</sup>, Mark Orme<sup>1</sup>, Christine Diamond<sup>1</sup>, Niklas Tullberg<sup>1</sup> and Susan H. Henry<sup>1</sup>

Academic Editor: Michele T. Pritchard

Received	Revised	Accepted	Published
11 Jul 2019	27 Nov 2019	20 Dec 2019	20 Jan 2020

Abstract

PLOS ONE

PUBLISH ABOUT BROWSE SEARCH advanced search

## Regulation as an Approach toward Retinal Integrity

Yan Zhang, Kyoko Miya, Tim McGinn, Ewa Budzinski, Andriy Pashko, Kuo Lee Liu, Sadmir Kuksa, Mark Orme, Ian Scott, Ahmad Fawzi, Ryo Kubota

DOI: [10.1371/journal.pone.0124940](https://doi.org/10.1371/journal.pone.0124940)

Views	Metric	Comments	Media Coverage
26 Save	22 Citation		
5,371 View	0 Share		

Download PDF Print Share

Check for updates

PLOS ONE

NEW COLLECTION: Autophagy & Proteostasis

Read New Research Articles from National Institute of Immunology (NII)

# 特許（医薬品開発）

Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (15/121283) US Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.831	Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (2016017028928) India Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.741	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 10,188,615 US Full Granted on Jan 29, 2019 Oct 3, 2028 35218-718.308	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 201310507844.0 China Full Granted on Jan 7, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.7111	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 354184 Mexico Full Granted on Feb 16, 2018 Oct 3, 2028 35218-718.783	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (13784718.2) Europe Full Allowed May 3, 2033 35218-746.611	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (15/967,080) US Full Granted on May 1, 2018 May 3, 2033 35218-746.201
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics 3110433 Europe Full Granted on July 10, 2019 Feb 24, 2035 35218-640.611	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 7,982,071 US Full Granted on July 19, 2011 Oct 3, 2028 35218-718.201	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat (16/043,019) US Full Allowed Oct 3, 2028 35218-718.309	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 291697 India Full Granted on Jan 12, 2018 Oct 3, 2028 35218-718.741	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 291697 India Full Granted on Aug 19, 2011 Oct 3, 2028 35218-718.891	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (1120140275718) Brazil Full Pending May 3, 2033 35218-746.691	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (15/967,080) US Full Pending May 3, 2033 35218-746.301
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (19184888.6) Europe Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.6111	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 8,981,153 US Full Granted on Mar 17, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.301	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat J/001682 US Full Granted on Jul 3, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.371	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 5913805 Japan Full Granted on Apr 8, 2016 Oct 3, 2028 35218-718.761	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 5913805 Japan Full Granted on Jul 24, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.892	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (2,872,433) Canada Full Pending May 3, 2033 35218-746.701	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (18106035.4) Hong Kong Full Pending May 3, 2033 35218-746.892
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (2016-553887) Japan Full Granted on May 15, 2019 Feb 24, 2035 35218-640.761	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 8,993,807 US Full Granted on Mar 31, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.302	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 2091955 Europe Full – validated in DE, FR, UK, ES, IT Granted on Dec 7, 2016 Oct 3, 2028 35218-718.611	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 5898758 Japan Full Granted on Mar 11, 2016 Oct 3, 2028 35218-718.7612	Pharmacology of visual cycle modulators Emixustat 10,471,027 US Full Granted on Nov 12, 2019 Jul 2, 2029 35218-728.201	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (201710706410.1) China Full Pending May 3, 2033 35218-746.7111	Inhibitors of VAP-1 VAP-1 (PCT/US2019/053481) PCT Full Pending Sept 28, 2038 35218-788.601
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (2019-072106) Japan Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.7611	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 9,079,825 US Full Granted on July 14, 2015 Oct 3, 2028 35218-718.303	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 3210966 Europe Full – validated in DE, FR, UK, ES, IT Granted on Jan 8, 2020 Oct 3, 2028 35218-718.6111	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 5898758 Japan Full Granted on Mar 11, 2016 Oct 3, 2028 35218-718.7612	Pharmacology of visual cycle modulators Emixustat (16/664,179) US Full Pending Jul 2, 2029 35218-728.301	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (9886/DELNP/2014) India Full Pending May 3, 2033 35218-746.741	Inhibitors of VAP-1 VAP-1 (PCT/US2019/053487) PCT Full Pending Sept 28, 2038 35218-795.601
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (2015800154125) China Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.711	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 9,458,088 US Full Granted on October 4, 2016 Oct 3, 2028 35218-718.305	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat PI 0818496-8 Brazil Full Pending Oct 3, 2028 35218-718.691	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 337100 Mexico Full Granted on Dec 13, 2012 Oct 3, 2028 35218-718.781	Pharmacology of visual cycle modulators Emixustat (10794836.6) Europe Full Pending Jul 2, 2029 35218-728.611	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (2019-187273) Japan Full Pending May 3, 2033 35218-746.7612	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (MX/a/2014/013341) Mexico Full Pending May 3, 2033 35218-746.781
Treatment of retinal degeneration using gene therapy Optogenetics (1120160194322) Brazil Full Pending Feb 24, 2035 35218-640.691	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 9,737,496 US Full Granted on Aug 22, 2017 Oct 3, 2028 35218-718.307	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 2,701,116 Canada Full Granted on Feb 5, 2013 Oct 3, 2028 35218-718.701	Alkoxy compounds for disease treatment Emixustat 354184 Mexico Full Granted on Feb 16, 2018 Oct 3, 2028 35218-718.783	Pharmacology of visual cycle modulators Emixustat 5860398 Japan Full Granted on Dec 25, 2015 Jul 2, 2029 35218-728.761	Compounds and methods for the treatment of diabetic retinopathy Emixustat (MX/a/2014/013341) Mexico Full Pending May 3, 2033 35218-746.781	

成立特許  
申請中  
合計  
(2020年2月現在)

29件  
19件  
48件



# 特許（医療機器開発）

81166415  
10583.001AU1  
35218-774.681  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
AU  
2017382218  
81166416  
10583.001CA1  
35218-774.701  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
CA  
3048197  
81166417  
10583.001CN1  
35218-774.711  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
CN  
2017800867901  
81166418  
10583.001EP1  
35218-774.611  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
EP  
17884340.5  
81166414  
10583.001JP1  
35218-774.761  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
JP  
2019-534703  
81140201  
10583.001US1  
35218-774.301  
PBOS  
35218-774.301 MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY  
US  
15/996,329  
1165557  
10583.002WO1  
35218-789.601  
PBOS  
MINIATURIZED MOBILE, LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
PCT  
PCT/US2019/038270

81165159  
10583.003WO1  
35218-790.601  
eSpec/eCL  
METHOD AND APPARATUS FOR TREATING REFRACTIVE ERROR OF THE EYE  
PCT  
PCT/US2019/030682  
81165666  
10583.005TW1  
35218-792.851  
eSpec/eCL  
DEVICE TO PREVENT RETINAL HYPOXIA  
TW  
108123829  
81165561  
10583.005WO1  
35218-792.601  
eSpec/eCL  
DEVICE TO PREVENT RETINAL HYPOXIA  
PCT  
PCT/US2019/040580  
81165764  
10583.006TW1  
35218-794.851  
eSpec/eCL  
OPTICAL DESIGNS OF ELECTRONIC CONTACT LENS TO DECREASE MYOPIA PROGRESSION  
TW  
108127072  
81165765  
10583.006WO1  
35218-794.601  
eSpec/eCL  
ELECTRONIC CONTACT LENS TO DECREASE MYOPIA PROGRESSION  
PCT  
PCT/US2019/043692  
81167680  
10583.007PV1  
35218-799.101  
PBOS  
MOBILE VISION TESTING METHODS AND APPARATUS  
US  
62/878,626  
81172889  
10583.007PV2  
35218-799.102  
PBOS  
MOBILE VISION TESTING METHODS AND APPARATUS  
US  
N/A  
81167984  
10583.009PV1  
35218-798.101  
eSpec/eCL  
SPECTACLE LENSES WITH NEAR EYE DISPLAYS FOR PREVENTION OF MYOPIA PROGRESSION  
US  
62/881,123

81168831  
10583.009PV2  
35218-798.102  
eSpec/eCL  
SPECTACLE LENSES WITH NEAR EYE DISPLAYS FOR PREVENTION OF MYOPIA PROGRESSION  
US  
62/885,035  
81171663  
10583.009PV3  
35218.798.103  
eSpec/eCL  
DEVICE FOR PROJECTING IMAGES ON RETINA  
US  
62/907,496  
81173130  
10583.009PV4  
35218.798.104  
eSpec/eCL  
DEVICE FOR PROJECTING IMAGES ON THE RETINA  
US  
62/925,948  
81171052  
10583.010PV1  
35218-832.101  
eSpec/eCL  
ASSEMBLY PROCESS FOR AN ELECTRONIC SOFT CONTACT LENS DESIGNED TO INHIBIT PROGRESSION OF MYOPIA  
US  
62/900,974  
81173159  
10583.011PV1  
35218-833.101  
PBOS  
FACIAL RECOGNITION AND VISION TESTING  
US  
62/944,889  
81174494  
10583.012PV1  
N/A  
PBOS  
DATABASE OF RETINAL PHYSIOLOGY DERIVED FROM OPHTHALMIC MEASUREMENTS PERFORMED BY PATIENTS  
US  
62/962,478  
81178733  
10583.012PV2  
35218-835.102  
N/A  
DATABASE OF RETINAL PHYSIOLOGY DERIVED FROM OPHTHALMIC MEASUREMENTS PERFORMED BY PATIENTS  
US  
N/A  
81177109  
10583.013US1  
35218-834.997  
PBOS  
OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM  
US  
29/718,289

81177134  
10583.014PV1  
35218-835.101  
PBOS  
OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY PATIENT ALIGNMENT SYSTEM FOR HOME BASED OPHTHALMIC APPLICATIONS  
US  
62/953,827  
81178712  
10583.015PV1  
tbd  
PBOS  
LOW COST OPTICAL COHERENCE TOMOGRAPHY SYSTEM SUITABLE FOR HOME USE  
US  
62/962,516

成立特許 6件  
申請中 17件  
申請予定 2件  
合計 25件

# 眼科領域の革新的な技術をリードするために世界各国で研究開発を実施



# 次回の開示予定

次回の本資料の開示は、2021年12月期決算発表時を目途とする予定です

なお、事業進捗に関する内容（10～12ページ）に変更がある場合には、四半期決算短信において当該変更事項を開示する予定です