



2022年8月12日

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 東証グロース
問合せ先 広報・IR部
(TEL : 03-6550-8928 (代表))

スターガルト病治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の第3相臨床試験 トップラインデータを発表

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%子会社のクボタビジョン・インク(本社：米国ワシントン州)が実施した「エミクススタト塩酸塩」(以下「エミクススタト」)のスターガルト病を適応症とした第3相臨床試験において、主要評価項目でのエミクススタト投与群のプラセボ投与群に対する優位性を達成しなかったことをお知らせいたします。

当臨床試験は、多施設共同無作為化二重盲検プラセボ対照第3相臨床試験で、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投与群に2対1で割り付け、1日1回の経口投与にて24ヶ月間実施しました。主要評価項目は若年性黄斑変性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、副次的評価項目には、最良矯正視力、コントラスト感度、読速度などの追加撮像パラメータやいくつかの視機能の変化が含まれます。

データのトップライン解析の結果、主要評価項目および副次的評価項目の二群間の優位差が統計的に示されず、またその差は臨床的に意味のあるものでもありませんでした。主要評価項目である黄斑萎縮の進行率は、エミクススタト投与群で1.280 mm²/年、プラセボ投与群で1.309 mm²/年でした(p=0.8091)。但し、エミクススタトの忍容性は良好で、先行研究と同様の安全性プロファイルが示されております。

また、当社の代表取締役会長、社長兼最高経営責任者の窪田良博士は次のようにコメントしています。
「当初期待しておりました結果に至らなかったことは誠に遺憾ではありますが、当社は、当該臨床研究で得たデータを更に綿密に検証し、引き続き共同開発パートナーを探す等の活動を継続するとともに、エミクススタトの今後の計画について改めて検討してまいります。あわせて、クボタメガネを中心とした医療機器開発および販売に注力してまいります。株主等のステークホルダーの皆様のご期待になるべく早期に応えるためにも、医療機器開発および販売に集中できる経営環境を整えてまいります。」

なお、本件の2022年12月期の連結業績への影響につきましては現在精査中であり、業績予想の修正が必要と



なった場合には速やかに開示します。

当臨床試験に対する助成プログラムについて

当臨床試験は、2020年8月に、FDAより、Orphan Products Clinical Trials Grants Programの助成プログラムに選定されました。クボタビジョンは2285万ドル（約30億円）（93.3%）を出資し、FDAを所管する米国保健社会福祉省（HHS）から総額163万ドル（約2.2億円）（6.7%）が支給されました。なお、本プレスリリースの内容は、当社グループが発信したものであり、必ずしもFDA/HHSや米国政府の公式見解等もしくは承認を示すものではありません。

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%子会社のクボタビジョン・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研究を進めております。また、在宅・遠隔医療分野（モバイルヘルス）における医療モニタリングデバイス（PBOS）、ウェアラブル近視デバイスの研究開発も手掛けております。（ホームページアドレス：<https://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。