



株主通信

2019年1月1日 ▶ 2019年12月31日



窪田製薬ホールディングス株式会社

証券コード：4596



議決権行使書ご返送のお願い

2019年度定時株主総会の提案の中には、当日または議決権行使書のご提出及び、インターネットで議決権を行使いただいた株主の皆様の議決権数の合計が、総議決権数の3分の1以上であることが必要となる議案がございます。

つきましては、なにとぞ「2019年度定時株主総会招集ご通知」に同封されている議決権行使書（郵便はがき）に賛否をご表示いただき、折り返しご返送いただくか、**インターネット*で議決権を行使いただきますよう**お願い申し上げます。

*議決権行使URL：<https://www.web54.net/>

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 CEO

窪田 良

革新的な技術とイノベーションの力で 世界から失明を撲滅する

当社は、「世界から失明を撲滅する」というミッションのもと、眼科領域に特化したバイオテック企業として、数々の革新的な治療薬・医療技術の開発に取り組んでまいりました。1日でも早く、眼疾患で不安を抱えておられる方々に、希望と安心、そして目が見える喜びと感動をお届けするべく、確固たる信念のもとに日々研究開発及びマーケティングに精力的に取り組んでまいります。2019年は、アメリカ航空宇宙局National Aeronautics and Space Administration(以下、NASA)との開発受託契約の発表に始まり、NASA関連の発表の機会が多いい年となりました。また、主力パイプラインの一つであるスターガルト病の候補薬、エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験の被験者登録も、目標数の半数以上の登録が完了し、被験者登録完了まで一歩一歩進めてまいりました。現在は、エミクススタト塩酸塩、オプトジェネティクス技術による遺伝子治療薬、医療用機器の3つのパイプラインを中心として、複数のプロジェクトを進めております。

エミクススタト塩酸塩について

現在の網膜疾患治療では、主に眼内注射薬が用いられておりますが、眼球に注射をすることに対する不安から、治療を受けることに抵抗のある方も多くいらっしゃいます。当社が開発しているエミクススタト塩酸塩は、飲み薬であるため、患者さんへの精神的負担がより少なく、より安全性が高い、革新的な治療法になることが期待されております。現在は、スターガルト病を適応症としたエミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験を開始し、被験者登録を進めております。2020年4月14日時点での被験者登録数は、171名となっており、当初の目標被験者登録数162名を上回る登録数を達成いたしました。今後は、最終登録者への投与を開始したのち、24ヶ月にかけて当臨床試験を実施していきます。



医療用機器について

遠隔で網膜の病変を観察するための超小型光断層診断装置の開発を進めております。クラウドを活用し、自覚症状の乏しい網膜の病気の早期発見と、網膜疾患に罹患した方々のモニタリングを実現し、個々の患者さんに適した眼科治療を行うための医療機器の実用化を目指してまいります。昨今では、新型コロナウイルスの影響により、遠隔医療デバイスの需要が高まっております。当社では、逸早い商用化に向け、マーケティング戦略にも力を入れてまいります。

また、NASAと締結した宇宙飛行士モニタリングデバイスの開発についても、2020年1月末にプロトタイプの操作デモを行い、高評価を得ております。この装置を使い、宇宙に長期滞在した宇宙飛行士の69%が罹患するという Spaceflight Associated Neuro-ocular Syndrome(SANS) の解明 に役立たせて行きたいと考えております。

オプトジェネティクス技術による遺伝子治療薬について

網膜色素変性症を対象とする遺伝子治療の研究開発を行っています。網膜色素変性症は世界で約150万人が罹患し、失明に至る恐れがある遺伝性の網膜疾患です。米国では2017年に世界で初めて眼科の遺伝子治療薬ラクスターナが承認され、薬価が両眼で9,600万円だったことも追い風となり、今後、高い成長が期待できる市場と言えます。当社の開発している遺伝子治療薬は、ヒト由来のロドプシンを用いているため、安全性が高いことが期待されております。

今後も社員一丸となり、事業に邁進する所存でございます。皆様、引き続きご指導ご鞭撻のほど、宜しくお願い申し上げます。

2020年4月吉日

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
窪田 良 MD, PhD

経営陣



窪田 良
MD, PhD

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 (CEO)
クボタビジョン・インク*会長、社長
兼最高経営責任者 (CEO)



前川 裕貴

窪田製薬ホールディングス株式会社
取締役兼執行役最高財務責任者
(CFO)
クボタビジョン・インク 最高財務責任者 (CFO)

取締役



窪田 良
MD, PhD

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 (CEO)
クボタビジョン・インク 会長、社長
兼最高経営責任者 (CEO)



前川 裕貴

窪田製薬ホールディングス株式会社
取締役兼執行役最高財務責任者
(CFO)
クボタビジョン・インク 最高財務責任者 (CFO)



浅子 信太郎

クボタビジョン・インク 取締役
くら寿司 USA・インク社外取締役
ユーザーベース社外取締役



中村 栄作

クボタビジョン・インク 取締役
一般社団法人こいのぼり 監事



ロバート・タケウチ

クボタビジョン・インク 取締役
RTコンサルティング・インク 社長

パイプライン | Pipeline

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さんのもとに届けられます。
窪田製薬ホールディングスは、新薬や医療デバイスの開発に日々邁進しております。

開発パイプラインの状況

低分子化合物	適応症	前臨床	第1相	第2相	第3相
エミクススタト塩酸塩	スターガルト病				
エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症				
遺伝子治療	適応症	前臨床	第1相	第2相	第3相
ヒトロドプシン	網膜色素変性症				
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)	
在宅・遠隔医療眼科用網膜 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)				
在宅・遠隔医療眼科用網膜 モニタリング機器	NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス				

新薬ができるまでのプロセス



積極的な技術導入と自社研究開発を強化することにより、革新的な眼科製品ポートフォリオの充実を目指す

窪田製薬ホールディングスは、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・医療機器の開発および実用化に繋げてまいります。

2016

12月 三角合併により窪田製薬ホールディングス発足
12月 窪田製薬ホールディングス 東京証券取引所マザーズ市場へ上場

2017

1月 「エミクススタト塩酸塩」のスターガルト病治療に対する米国オーファンドラッグ指定
1月 スターガルト病治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の前期第2相臨床試験開始
2月 在宅・遠隔医療眼科網膜モニタリング機器「PBOS」の開発開始

2018

1月 シリオン社と眼科遺伝子治療法に関する 遺伝子デリバリー技術の共同開発契約を締結
3月 在宅・遠隔医療眼科網膜モニタリング機器「PBOS」の臨床試験実施の承認を倫理審査委員会（IRB）より取得
11月 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相臨床試験開始

2019

3月 NASAのディープスペースミッションに向け、小型OCT（光干渉断層計）の開発受託契約を締結
6月 「エミクススタト塩酸塩」のスターガルト病治療に対する欧州オーファンドラッグ指定
8月 NHK「おはよう日本」でNASA宇宙飛行士モニタリングデバイスが特集される

Q.今後のビジネスモデルの方向性を教えてください。

A.低分子化合物だけではなく、今後高い成長が期待できる遺伝子治療や医療機器をパイプラインに組み入れることで、企業価値の増大を図っていく方針です。

Q.どのような特許戦略、ポートフォリオを持っていますか。

A.特許戦略は経営戦略の中で重要な位置づけであると認識しており、特に米国、日本およびその他の地域（欧州）における特許取得を重視しています。
特許件数は、医薬品開発においては、成立特許が29件、申請中が19件、合計が48件となっており、医療機器開発においては、成立特許が6件、申請中が17件、申請予定が2件、合計が25件となっています。

Q.窪田製薬の強みを教えてください。

A.当社は独自に開発したビジュアルサイクルモジュレーション技術を有していることに加え、最近では今後高い成長が期待できる遺伝子治療や医療機器分野の開発にも注力しており、パイプラインはユニークで多様な開発品で構成されています。
また、バイオ先進国である米国に研究開発の拠点を置くことにより、優秀な人材を確保し、グローバルな研究開発体制を構築することで、他社との差別化を図るものと考えています。

Q.今後の研究開発資金をどう捻出していきますか。

A.中長期的な研究開発の継続性を確保するため、プロジェクトの優先順位を見直すことにより研究開発の効率を高めると同時に、業務提携に重点を置くことにより手元資金を極力温存していく方針です。
また、随時、外部助成金等の活用も積極的に検討していきます。

Q.株価が低迷していますがどう考えていますか。

A.当社は、研究開発を進め、有望なパイプラインを進捗させることが企業価値の増大につながると考えています。なお、会社法上、分配可能額がないため、現時点での自社株買いや配当は考えておりません。

Q.エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験の被験者登録完了時期と第3相臨床試験の終了時期を教えてください。

A.2020年度第2四半期末（2020年6月末）までには被験者登録を完了できるものと考えています。当該第3相臨床試験は投与期間が24ヵ月であるため、最後の被験者登録が完了してから24ヵ月後に治験参加者全てのデータを回収することが可能となり、その後データベースを固定することとなりますが、昨今のコロナウィルスの影響が、どの程度出てくるか見通せない状況であり、現時点では具体的な時期をお示しすることはできません。

Q.中間解析結果を開示する予定はありませんか。

A.中間解析を行う予定ありません。

Q.スターガルト病対象での上市タイミングの見通しはありますか。

A.承認申請してから承認されるまでの期間については、各国の規制当局との交渉によります。現在実施中の第3相臨床試験の結果が良好であれば、追加試験を回避し米国がFDAにファーストトラック(優先承認審査制度) 指定を設けて申請を目指す方針です。

Q.スターガルト病対象の日本での研究開発・臨床試験実施の可能性はありますか。

A.日本での開発については、現在検討中です。

Q. 遺伝子治療薬について、今後の研究開発方針を教えてください。

A.早期にヒトでの臨床試験を開始できるよう、プロモーター及びカプシドの改良、導入遺伝子の改変といった前臨床研究を進める方針です。

Q.早期段階の研究にはどのようなものがありますか。

A.早期段階の研究プロジェクトの詳細についてはお答えできません。
具体的な進捗があれば適宜プレスリリース等を通じて開示させていただきます。

Q.PBOSの510(k)申請をしなかったことで提携交渉に影響はしていませんか。

A.当社のPBOSは、既に市販用のプロトタイプが完成しており、510(k)申請の有無は交渉へ影響しないと考えています。現時点では、商業化戦略や510(k)の申請は、提携先と一緒に進めたいと考えています。

Q.業務提携先を見つけるのが難航した場合、自社単独でPBOSビジネスを展開する可能性はありますか。

A.当社グループの財務状況や、提携先検討の進捗によっては、自社単独で事業を推進するオプションも検討する方針です。

Q.デバイスの今後のビジネスモデルを教えてください。

A.社内で複数のビジネスモデルを検討していますが、詳細については現時点でお伝えできません。

Q.NASAプロジェクトが事業に与える影響について教えてください。

A.今回の開発は視神経乳頭の形態学的解析を目指しており、当該開発は、NASAでの活用だけではなく、当社において緑内障等の視神経乳頭に影響のある疾患の診断ビジネスに活用できるものと考えています。

Q. NASAプロジェクトのフェーズ1は何を目標していますか。

A.フェーズ1の達成目標は、高解像度のデータが取得できるかどうかの初期確認です。

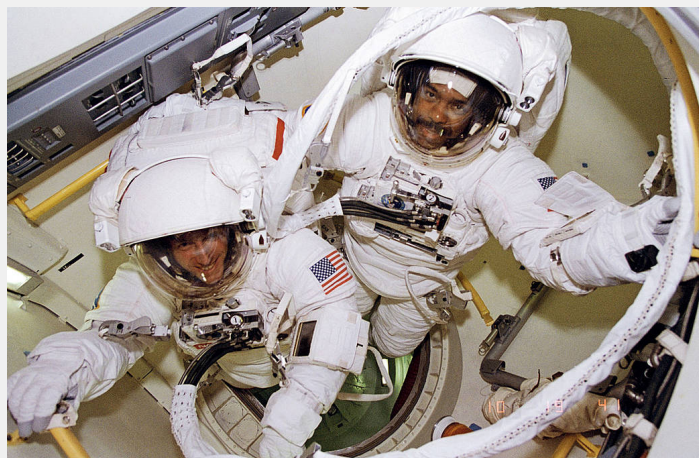
Q. NASAプロジェクトの今後の具体的な開発計画について教えてください。

A.当該開発計画は完成まで複数のフェーズで構成されており、各フェーズは概ね1年程度です。従って、プロジェクト全体の開発期間は3年から4年程度となる見込みです。



在宅・遠隔医療眼科用網膜
モニタリング機器

NASA宇宙飛行士 モニタリングデバイス



宇宙に長期滞在したヒトの69%が、Spaceflight-Associated Neuro-ocular Syndrome(SANS)と診断されています(2020年1月末時点での情報)。SANSの兆候としては、視神経乳頭浮腫、遠視化、眼球後部平坦化、脈絡膜のひだ、綿花状白斑などが挙げられています。当社の小型デバイステクノロジーを用いて、宇宙飛行中の宇宙飛行士の視神経の状態をモニタリングし、経過観察を可能にすることを目指しています。

有人火星探査のために求められる眼科装置の条件

- 視神経乳頭の経過観察ができること
- シンプルな操作性であること
- 消費電力が少ないこと
- 耐放射線であること
- 超小型であること など

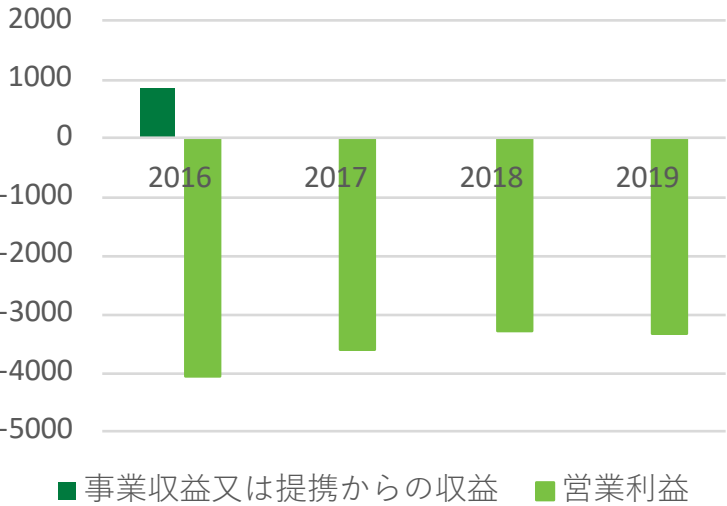
将来的には、宇宙飛行士だけでなく、地上の緑内障患者や視神経疾患患者のモニタリングに活用場所を問わず、多くの人を対象にこの小型デバイステクノロジーの活用が可能に



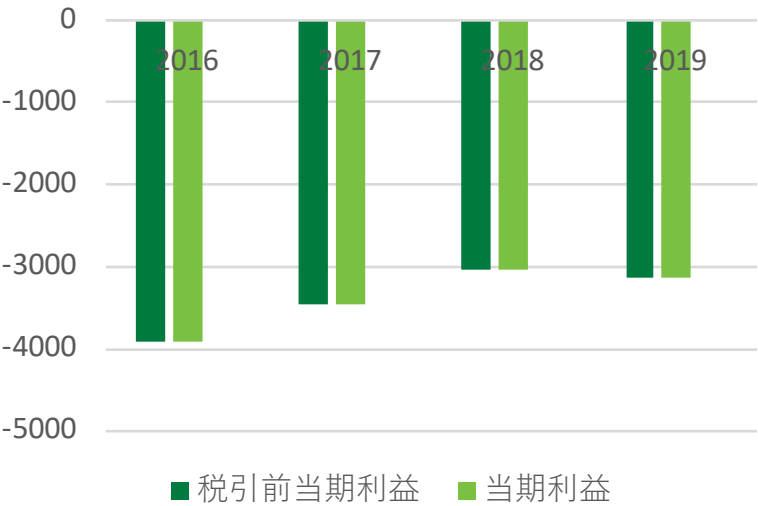
財務ハイライト | Financial Highlights

単位：百万円	2018年12月期	2019年12月期	増減額	増減の主な要因
事業収益	—	—	—	
事業費用	3,274	3,288	+ 14	
研究開発費	2,479	2,756	+ 277	・エミクススタットのスターガルト病を対象とした第3相臨床試験の本格化 ・遠隔医療眼科網膜モニタリングデバイスPBOSの開発費増加 他
一般管理費	794	532	△ 262	・人員減等による人件費の減少
営業損失（△）	△ 3,274	△ 3,288	+ 14	
当期損失（△）	△ 3,046	△ 3,066	+ 20	
流動資産	11,177	8,177	△ 3,000	
現金及び現金同等物、 その他の金融資産	10,939	7,971	△ 2,968	（※）
非流動資産	113	563	+ 450	
その他の金融資産	-	488	+ 488	（※）
資産合計	11,290	8,741	△ 2,549	
流動負債	662	505	△ 157	未払債務や未払報酬の減少
非流動負債	85	158	+ 73	
資本	10,543	8,077	△ 2,466	当期損失計上による減少 新株予約権の行使による増加
負債及び資本合計	11,290	8,741	△ 2,549	
（※）手元資金 現金及び現金同等物、その他の 金融資産(流動・非流動)の合計	10,939	8,458	△ 2,481	営業CF：△3,428百万円

事業収益又は提携からの収益/営業損失



税引前当期利益/当期利益



名称	窪田製薬ホールディングス株式会社
英文名称	Kubota Pharmaceutical Holdings Co., Ltd.
設立	2015年12月
所在地	東京都千代田区霞ヶ関三丁目7番1号霞ヶ関東急ビル4F
電話番号	03-6550-8928（代表）
執行役 （2020年2月29日現在）	窪田 良 MD、PhD 代表執行役会長、 社長兼最高経営責任者（CEO）
取締役 （2020年2月29日現在）	窪田 良 MD、PhD 浅子 信太郎 中村 栄作 ロバート・タケウチ

発行済株式総数	42,303,188株（2020年2月29日現在）	
株主数	22,399名（2020年2月29日現在）	
大株主の状況	（2020年2月29日現在）	
株主名	持株数	持株比率
窪田 良	10,250,654株	24.23%
株式会社大塚製薬工場	1,515,152株	3.58%
日本証券新聞株式会社	1,087,600株	2.57%
水野 親則	560,000株	1.32%
宮田 和典	299,200株	0.7%
DNP Holdings USA Corporation	222,222株	0.52%
信越化学工業株式会社	222,222株	0.52%
新田 勝也	211,700株	0.5%
株式会社東京ウエルズ	203,715株	0.48%
野村證券株式会社	172,653株	0.4%

株主メモ

- 証券コード
東証マザーズ4596
- 決算期
12月31日
- 定時株主総会議決権基準日
2月末
- 売買単位
100株
- 株主名簿管理人・特別口座の口座管理機関
三井住友信託銀行株式会社
東京都千代田区丸の内一丁目4番1号
事務取扱場所
三井住友信託銀行株式会社 証券代行部
同郵便先
〒168-0063
東京都杉並区和泉2丁目8番4号
0120-782-031

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。