



2019年6月10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 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のお知らせ

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、100%子会社のアキュセラ・インク（本社：米国ワシントン州、以下「アキュセラ」）がスターガルト病を適応症として開発する新薬候補「エミクススタト塩酸塩」（以下、「エミクススタト」）について、この度欧州医薬品庁（EMA：European Medicines Agency）よりオーファンドラッグ指定の通知を受けたことをお知らせします。

オーファンドラッグは稀少疾病用医薬品と呼ばれ、治療が困難な病気や患者数が少ない病気に対する治療薬のことをいいます。欧州では、生命を脅かすような疾患や重篤で慢性的な衰弱状態の疾患で、1万人当たり5人未満の発症率である疾患の診断や治療のための医薬品が指定対象となっており、開発促進を図るため10年間の市場独占、医薬品の製造販売承認申請費用の減額などのインセンティブ^(注1)がスポンサー企業に提供されます。

オーファンドラッグの認可数は年々増加傾向にあり、2018年に米国FDAで製造販売承認を受けた新薬のうち、実に58%がオーファンドラッグ指定を受けていました。またその多くが1千億円以上のピーク時の売り上げが期待されています。

なお、エミクススタトは、スターガルト病の新規治療薬候補として米国FDAからもオーファンドラッグ指定を受けています。（2017年1月6日付当社プレスリリース『「エミクススタト塩酸塩」のスターガルト病治療に対するFDAオーファンドラッグ指定のお知らせ』をご参照ください。）

スターガルト病について

スターガルト病は、徐々に光受容体が損傷し、視野の欠損、色覚異常、歪み、ぼやけ、中心部が見えにくいなど様々な視力低下の症状が生じる遺伝性疾患です。典型的なスターガルト病は小児期から青年期にかけて発症しますが、中には成人期まで視力低下を自覚しない患者もいます。スターガルト病の約95%の症例は、網膜に局在するABCA4遺伝子の異常に起因していると考えられています*1。

スターガルト病は、8千～1万人に1人が罹患すると言われており^(注2)、米国、欧州、日本において合計15万人弱の患者がいると推定されています。現在、スターガルト病に対し症状の進行を抑制する治療法は存在しておらず、アンメット・メディカル・ニーズの高い疾患として対応が急がれています。



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細胞に輸送する働きをする 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、網膜内の細胞が損傷し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。

(注1) オーフアンドラッグに指定された場合、開発促進を図るためにスポンサー（開発）企業は以下のインセンティブ（メリット）を享受することができます。

- ① 10年間の市場独占期間
- ② 製造販売承認申請費用の減額
- ③ 当局による助言・指導、相談料の減額
- ④ 優先承認審査

(注2) : Facts About Stargardt Disease, National Eye Institute.

https://nei.nih.gov/health/stargardt/star_facts. (閲覧日 2018年9月14日)

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、白内障や老視(老眼)の薬物治療を目的とした低分子化合物の研究開発、そして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実施しております。同時に、糖尿病黄斑浮腫、ウェット型加齢黄斑変性など血管新生を伴う疾患の治療を目指し、生物模倣技術を用いた低分子化合物の研究開発も進めております。在宅・遠隔医療分野(モバイルヘルス)では、PBOSなどクラウドを使った医療モニタリング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 : <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。