

2016年4月19日

各 位

会 社 名 アキュセラ・インク (Acucela Inc.)
代表者の役職・氏名 会長、社長兼最高経営責任者
窪田 良
(コード番号 4589 東証マザーズ)
問 合 せ 先 アキュセラ・インク (Acucela Inc.)
日本事務所 ディレクター 須賀川 朋美
(TEL : 03-5789-5872 (代表))
代理人の ベーカー&マッケンジー法律事務所
住所・氏名 (外国法共同事業)
弁護士 高橋 謙
(TEL : 03-6271-9900)

**加齢黄斑変性治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2b/3相試験、
最終被験者来院(LPLV)を完了**

失明や視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索および開発に取り組むアキュセラ・インク（本社：米国シアトル、会長、社長兼最高経営責任者：窪田良、以下「当社」）は、視覚サイクルモジュレーション技術に基づき開発した「エミクススタト塩酸塩」（以下、「エミクススタト」）の臨床第2b/3相試験(SEATTLE試験)の最終被験者の来院(LPLV)を終えたことのお知らせいたします。

臨床第2b/3相試験(SEATTLE試験)は、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性に罹患する患者様508名を対象に実施してまいりました。主要評価項目は、エミクススタト投与群とプラセボ投与群との地図状萎縮進行遅延効果の比較で、副次評価項目には、安全性と忍容性、最高矯正視力の変化、ウェット型加齢黄斑変性の症状である脈絡膜新生血管生成に対する抑制効果が含まれます。この度、臨床第2b/3相試験(SEATTLE試験)における最後の登録被験者が24ヶ月の投与期間を完了し、最終来院を終えました。主要評価項目達成に関する評価となるトップラインデータにつきましては、今年6月に公表する予定に変更はございません。

眼科医であり、当社会長、社長兼最高経営責任者の窪田良博士は次のように述べています。「エミクススタトを開発するマイルストーンにおいて、臨床第2b/3相試験の進捗についてご報告ができたことをとても喜ばしく思います。被験者としてご協力くださった患者様ならびに関係者の皆様から感謝しております。トップラインデータを報告できる日を楽しみにしております。」

尚、本件は2016年3月9日に開示された2016年12月期の業績予想には織り込み済みであり、業績予想に与える影響はございません。

以上



エミクススタト塩酸塩について

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曝露されると有害副産物を生成します。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、網膜が損傷され、視力低下あるいは失明に至ると考えられています。エミクススタトは、この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、視覚サイクル内のビタミン A の代謝率を低下させます。これにより、A2E (ビタミン A 由来の有害副産物) 産生が低下するので、網膜の健康維持に有用であると理論づけられています。エミクススタトは経口投与可能な非レチノイド系の低分子化合物です。新規化合物であり、視覚サイクルモジュレーションとしては世界で初めての薬剤候補です。非臨床試験において、エミクススタトは、有害副産物の蓄積、光障害によりおこる網膜変性、新生血管の増生のすべてを軽減することが証明されています。エミクススタトは当社と大塚製薬株式会社 (以下、「大塚製薬」) が共同開発しており、米国においては共同販売し、日本を含むアジア、太平洋、中東、および北アフリカの一部は大塚製薬が独占販売権を保有し、欧州、南米、アフリカにおいては当社が独占販売権を保有しています。当社のエミクススタトは、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性に対する治療薬候補として FDA (米国食品医薬品局) よりファストトラック認定を受けています。当社は、ウェット型加齢黄斑変性、糖尿病網膜症、糖尿病黄斑浮腫、スターガート病などへエミクススタトの適応拡大を検討しています。

SEATTLE 試験 (The Safety and Efficacy Assessment Treatment Trials of Emixustat

Hydrochloride study) について

SEATTLE 試験はエミクススタトの有効性と安全性をプラセボと比較する臨床第 2b/3 相試験であり、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象とする無作為化二重盲検用量範囲探索試験です。本試験では 508 名の被験者がエミクススタト 2.5mg、5mg、10mg またはプラセボ投与群に割り当てられ、24 ヶ月間にわたり 1 日 1 回の経口投与を行いました。有効性における主要評価項目は、眼底自家蛍光画像の測定を用いた、検査眼における萎縮病変総面積のベースラインからの変化の平均値です。副次的評価項目は、ベースラインから最高矯正視力変化の平均値と、その検査眼における脈絡膜新生血管の生成に対する抑制作用も含まれます。安全性と忍容性については、眼ならびに他の臓器で発現する有害事象、重篤な有害事象、眼科検査所見、バイタルサイン、身体検査所見、心電図所見、そして研究室での分析の結果により評価されます。

加齢黄斑変性について

加齢黄斑変性とは、中心視力の低下を引き起こし、深刻なケースにおいては失明にいたる網膜疾患です。加齢黄斑変性には視機能の重要な役割を有する網膜の中心部 (黄斑) の視細胞が損傷し萎縮するドライ型と脈絡膜新生血管を伴うウェット型があります。いずれも初期はドライ型を発症し、ドライ型のまま進行して地図状萎縮を引き起こすか、ウェット型へ移行します。最近では、ドライ型とウェット型が併発する症例も確認されています。現在、ウェット型の薬剤としては、眼内注射を用いた治療法がありますが、ドライ型には FDA の承認を受け上市されている薬剤が存在しないため、アンメット・メディカル・ニーズとして対応が求められています。加齢黄斑変性は、米国においては 50 歳以上の中途失明の主要原因であり、世界で 1 億 3500 万人が罹患していると報告されています*¹。

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



アキュセラ・インク (Acucela Inc.) について

アキュセラは、臨床開発段階の眼科医療ソリューション・カンパニーです。失明や視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索およ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地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性の治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の共同開発を大塚製薬株式会社と進めております。アキュセラは、2016年に白内障や老視(老眼)の薬物治療を目的としたラノステロールの研究開発、ならびに、網膜色素変性症における視機能再生を目指すオプトジェネティクスに基づく遺伝子療法の開発を開始しました。

(ウェブサイト：<http://www.acucela.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。