

## 【表紙】

【提出書類】 有価証券届出書

【提出先】 関東財務局長

【提出日】 平成25年12月27日

【会社名】 アキュセラ・インク  
(Acucela Inc.)

【代表者の役職氏名】 窪田 良  
会長、社長兼最高経営責任者 (Chairman, President and CEO)

【本店の所在の場所】 アメリカ合衆国、98101ワシントン州、シアトル市、  
セカンド・アベニュー1301、スイート1900  
(1301 Second Avenue, Suite 1900  
Seattle, WA 98101, U.S.A.)

【代理人の氏名又は名称】 弁護士 高橋 謙

【代理人の住所又は所在地】 東京都港区六本木一丁目9番10号  
アークヒルズ仙石山森タワー  
ベーカー&マッケンジー法律事務所  
(外国法共同事業)

【電話番号】 (03) 6271-9900

【事務連絡者氏名】 弁護士 西田 武  
弁護士 原田 優美

【連絡場所】 東京都港区六本木一丁目9番10号  
アークヒルズ仙石山森タワー  
ベーカー&マッケンジー法律事務所  
(外国法共同事業)

【電話番号】 (03) 6271-9900

【届出の対象とした募集(売出) 有価証券の種類】 普通株式

【届出の対象とした募集(売出) 金額】 募集金額(ブックビルディング方式による募集) 15,180,000,000円(注)  
売出金額(オーバーアロットメントによる売出し) 2,277,000,000円(注)

(注)募集金額および売出金額は、予定発行数および予定売出数に基づき、発行価格を有価証券届出書提出時における想定発行価格(1,650円)として計算された見込額であります。

【安定操作に関する事項】 該当なし

【縦覧に供する場所】 株式会社東京証券取引所  
東京都中央区日本橋兜町2番1号

(注)

1. 別段の記載がある場合または文脈上他の意味に解すべき場合を除き、本書において「我々」、「私たち」、「当社」、「発行会社」、「ACUCELA INC.」、「Acucela Inc.」または「Acucela」とは、アキュセラ・インクを指すものとします。
2. 米ドルの日本円への換算は、1米ドル = 102.44円 (2013年12月2日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客外国為替相場の仲値) の換算率により換算されています。
3. 当社の会計年度は、1月1日から12月31日です。
4. 別段の記載がある場合を除き、本書中の数値は、小数点第2位以下を四捨五入しています。本書中の表で計数が四捨五入されている場合、合計は計数の総和と必ずしも一致しません。
5. 本書において「本募集」とは、株式会社東京証券取引所 (以下「東京証券取引所」といいます。) による上場承認が行われた後に実施する公募増資を意味します。
6. 将来予測の記述に関する特記事項

歴史的情報に加え、本書には、将来予測の記述が含まれています。将来予測の記述には、とりわけ、当社の意図、信念または期待に関連する記述およびかかる将来予測の記述を識別する将来の事象もしくは結果に関する不確実性を表す「推定する」、「信じる」、「見込む」、「計画する」、「期待する」、「見積もる」、「意図する」、「継続する」、「すべきである」、「だろう」、「することができた」、「可能性がある」、「するつもりである」もしくは「する可能性がある」などの単語またはその他の類似した単語および表現が含まれる可能性があります。当社は、その時々、予期される将来の営業活動および業績に関連する、口頭または書面による将来予測の公式声明を行っております。将来予測の記述は、当社の誠実な信念および最新の情報に基づく最良の判断を反映しており、当社の将来の業績を保証するものではなく、また本書における「第二部 企業情報 - 第3 事業の状況 - 4. 事業等のリスク」、「第二部 企業情報 - 第3 事業の状況 - 1. 業績等の概要」およびその他の項目において言及される可成りもしくは不可知のリスクおよび不確実性の影響下にあります。本書に記載される将来予測の記述は、かかる記述がなされた日現在の事象のみに関係します。当社は、法律で義務付けられている場合を除き、新情報、将来の事象またはその他の結果として、いかなる将来予測の記述も公に更新する義務を有しません。さまざまな要因の結果として、実際の結果は、将来予測の記述に含まれる予想と著しく異なる可能性があります。

本書における将来予測の記述には、とりわけ、以下に関連する記述が含まれます。

- ・ 当社の収益、費用、実効税率およびその他の業績に関する当社の予想
- ・ 予想される当社の資本支出および当社の必要資本に関する予想
- ・ 当社の流動性および必要運転資本
- ・ 追加資金を調達する必要性および将来において受諾可能な条件で資金 (エミクススタト塩酸塩およびOPA-6566の前臨床または臨床試験を完了するために必要な資金を含む。) を調達する当社の能力
- ・ 研究対象を発見し、研究対象を臨床現場へ前進させるための追加的資金を調達する当社の能力
- ・ 継続的に当社の製品候補を共同開発または共同販売する提携パートナーの意欲
- ・ 本募集の手取金につき予想される使途
- ・ 当社がターゲットとする疾患の有病率
- ・ 当社の発展のために予想される戦略および新たな収益源
- ・ 研究、開発、規制および商業化の専門家との提携を引き付ける当社の能力
- ・ 当社の製品候補に対する規制承認ならびに承認された製品候補のラベルにおける関連する制限、制約および / または警告を獲得し維持する当社の能力
- ・ 当社の現在および将来の製品、承認申請および機能性ならびにそれらを販売促進する計画
- ・ 当社の事業および当社が事業を展開する市場において予想される傾向および課題
- ・ 第三者供給業者および製造業者の能力
- ・ 当社がターゲットとする疾患の治療に対するその他治療法の進化
- ・ 当社の知的財産を維持、保護および強化する当社の能力
- ・ 現在使用可能または今後使用可能となる治療との競争における成功
- ・ 当社のCEOである窪田良氏およびその他の主要な科学者または経営陣の喪失のリスク

- ・ 当社の製品開発活動および臨床試験の成功、費用およびタイミング
- ・ 必要とされる従業員を保持および雇用し、適切に人員配置する当社の能力
- ・ 経営陣の報酬およびその決定方法
- ・ 当社の事業に現在適用あるまたは将来適用される新たなまたは改正された法規制を把握する当社の能力
- ・ 当社の財務書類の作成ならびにオプション行使価格の決定に用いられる予測および予測方法論
- ・ 当社の普通株式の将来取引価格およびかかる価格に対する証券アナリストの影響

## 7. 見積りおよび統計データ

本書には、visiongain社、Frost & Sullivan社およびMarketScope社の市場研究レポートならびに国立衛生研究所が発行するものを含む科学的出版物および科学的レポートから当社が入手した、視力を脅かす疾患および失明に至る疾患の有病率ならびにそれら疾患のそれぞれの増加率を含む見積りおよびその他の統計データが含まれています。これらの科学的出版物およびレポートは、一般的に、信頼性があると考えられる情報源からの情報を入手したことが示されているものの、かかる情報の正確性および完全性を保証してはおりません。かかる情報は、複数の仮定および制約を伴うものであり、それらが達成される保証がないため、読者は、かかる見積りを重視しすぎないよう警告されております。当社は、かかる科学的出版物およびレポートに含まれるデータの正確性または完全性を独自に検証してはませんが、当社の経験上、当社は、かかる出版物およびレポートは信頼性があり、かかる出版物およびレポートに含まれる結論は、合理的であると考えております。

## 第一部【証券情報】

### 第1【募集要項】

#### 1【株式の募集】

##### (1)【新規発行株式】

記名・無記名の別、額面・ 無額面の別及び種類	発行数	内容
記名式無額面普通株式	9,200,000株 (注2)	権利内容に何ら限定のない、当社における標準となる株式であります。

(注1) 2013年12月26日(米国西海岸標準時間)開催の取締役会により発行が決議されております。

(注2) 発行数については2014年1月23日に変更される可能性があります。

(注3) 本募集に関連して、ロックアップに関する合意がなされておりますが、その内容につきましては「第2 売出要項 - 募集又は売出しに関する特別記載事項」をご参照ください。

(注4) 別段の記載がある場合を除き、本「第一部 証券情報」において記載された日付は、日本時間を指すものとします。

##### (2)【募集の方法及び条件】

###### 【募集の方法】

募集の形態	発行数	発行価額の総額	資本組入額の総額
募集株式 (ブックビルディング方式)	9,200,000株	15,180,000,000円	13,689,700,000円

(注1) 全株式を引受人の買取引受けにより募集します。2014年2月3日に決定される予定の引受価額にて当社と元引受契約を締結する予定の下記「(3) 株式の引受け」欄記載の金融商品取引業者(以下、本「第1 募集要項」において「引受人」といいます。)は買取引受けを行い、当該引受価額と異なる価格(発行価格)で本募集を行います。引受人は払込期日(下記「募集の条件」をご参照ください。)までに引受価額の総額を当社に払込み、本募集における発行価格の総額との差額は引受人の手取金といたします。なお、本募集は、東京証券取引所の有価証券上場規程施行規則に定めるブックビルディングにより投資家の需要状況を把握したうえで発行価格等を決定いたします。

(注2) 上記発行価額の総額は、上記発行数に基づき、発行価格を本有価証券届出書提出時における想定発行価格(1,650円)と仮定して計算した見込額であります。本募集における最終的な発行価格および発行価額の総額はブックビルディングの結果を勘案して2014年2月3日(以下「発行価格決定日」といいます。)に決定される予定であります。

(注3) 発行価額の総額は引受人が日本円にて受領しますが、引受価額の総額は引受人から当社に対し米ドルにて支払われます。その際の日本円から米ドルへの換算は、2014年2月6日現在の米ドル・日本円の為替レートにより決定される予定であります。

(注4) 当社は、2013年12月17日(米国東部標準時間)、米国証券取引委員会(以下「SEC」といいます。)に対し、当社株式についてForm S-1による登録を行っておりますが、米国内において当社株式を募集または売出す予定はありません。

(注5) 払込金額の総額から発行諸費用を差引いた差引手取金全額が資本に組入れられる予定です。上記の資本組入額の総額は、上記発行数に基づき、発行価格を本有価証券届出書提出時における想定発行価格1株当たり1,650円と仮定して計算された見込額です。

(注6) 本募集にあたっては、需要状況を勘案し、本募集とは別に1,380,000株を上限として、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社が当社株主より借入れる当社普通株式の売出し(以下「オーバーアロットメントによる売出し」といいます。)を追加的に行う場合があります。

## 【募集の条件】

額面・無額面の別	発行価格	資本組入額	申込株数 単位	申込期間	申込 証拠金	払込期日
無額面	(未定) (注1)	(未定)	100株	自2014年 2月4日 至2014年 2月7日	(未定) (注2)	2014年 2月10日 (米国西海 岸標準時 間)

(注1) 発行価格はブックビルディング方式により決定いたします。

発行価格は2014年1月23日に仮条件を決定し、当該仮条件による需要状況、上場日までの価格変動リスク等を勘案したうえで、発行価格決定日に発行価額と同時に決定する予定であります。仮条件は、事業内容、経営成績および財政状態、事業内容等の類似性が高い公開会社との比較、価格算定能力が高いと推定される機関投資家等の意見その他を勘案して決定する予定であります。需要の申込みの受け付けに当たり、引受人は、当社株式が市場において適正な評価を受けることを目的として、機関投資家等を中心に需要の申告を促す予定であります。

(注2) 申込証拠金は発行価格と同一の金額とし、利息は付しません。申込証拠金のうち引受価額相当額は、払込期日に新株式払込金に振替充当いたします。

(注3) 株式受渡期日は2014年2月13日(木)(以下「上場(売買開始)日」という。)の予定であります。株券はディポジトリ・トラスト・カンパニー(The Depository Trust Company)に開設された株式会社証券保管振替機構勘定に一括して預託され、上場(売買開始)日から売買を行うことができます。

(注4) 申込みは、申込期間内に下記申込取扱場所へ申込証拠金を添えて行います。

(注5) 申込みおよび払込みはすべて、当社普通株式の各申込人が下記「(3)株式の引受け」欄記載の金融商品取引業者のいずれかに開設する外国証券取引口座に適用される外国証券取引口座約款または総合証券取引約款に従ってなされます。かかる外国証券取引口座を開設していない各投資家は、事前にこれを開設しなければなりません。

(注6) 申込み在先立ち、2014年1月27日から2014年1月31日までの間で引受人に対して、当該仮条件を参考として需要の申告を行うことができます。当該需要の申告は変更または撤回することが可能であります。

販売に当たりましては、東京証券取引所の「有価証券上場規程」に定める株主数基準の充足、上場後の株式の流通性の確保等を勘案し、需要の申告を行わなかった投資家にも販売が行われることがあります。

引受人は、公平かつ公正な販売に努めることとし、自社で定める配分に関する基本方針および社内規程等に従い、販売を行う方針であります。配分に関する基本方針については引受人の店頭における表示またはホームページにおける表示等をご確認ください。

## 【申込取扱場所】

下記「(3)株式の引受け」欄記載の金融商品取引業者の日本国内にある本支店および営業所で申込みの取扱いをいたします。

## 【払込取扱場所】

店名	所在地
Wells Fargo & Company San Francisco, California	420 Montgomery Street San Francisco, CA 94104

## (3) 【株式の引受け】

引受人の氏名又は名称	住所	引受株式数	引受けの条件

三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社	東京都千代田区丸の内 二丁目5番2号	(未定)	1 買取引受けによります。 2 引受手数料は支払われません。ただし、発行価格と引受価額との差額の総額は引受人の手取金となります。
株式会社SBI証券	東京都港区六本木 一丁目6番1号		
大和証券株式会社	東京都千代田区丸の内 一丁目9番1号		
みずほ証券株式会社	東京都千代田区大手町 一丁目5番1号		
SMBC日興証券株式会社	東京都千代田区丸の内 三丁目3番1号		
計		9,200,000株	

(注1) 2014年1月23日に各引受人の引受株式数が決定される予定であります。

(注2) 上記引受人と発行価格決定日に元引受契約を締結する予定であります。

## 2【新株予約権証券の募集】

該当事項はありません。

## 3【社債（短期社債を除く。）の募集】

該当事項はありません。

## 4【コマーシャル・ペーパー及び短期社債の募集】

該当事項はありません。

## 5【外国譲渡性預金証書の募集】

該当事項はありません。

## 6【カバードワラントの募集】

該当事項はありません。

## 7【預託証券及び有価証券信託受益証券の募集】

該当事項はありません。

## 8【新規発行による手取金の使途】

## (1)【新規発行による手取金の額】

払込金額の総額	発行諸費用の概算額	差引手取概算額
13,889,700,000円	200,000,000円	13,689,700,000円

(注1) 払込金額の総額は、引受価額の総額であり、発行価格を本有価証券届出書提出時における想定発行価格(1,650円)と仮定して計算した見込額であります。

(注2) 払込金額の総額は、引受人から当社に対し米ドルにて支払われます。その際の日本円から米ドルへの換算は、2014年2月6日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客電信売買相場の仲値により決定される予定であります。

## (2)【手取金の使途】

上記差引手取金概算額のうち、2014年以降3年間の予算において約37.0億円をセールス&マーケティング部門設立資金、約38.3億円をエミクススタト塩酸塩等の欧州における研究開発資金、約15.0億円を視覚サイクルモジュレーター研究開発資金、約12.0億円をその他の研究開発資金、約34.6億円を設備費、器具・備品購入費その他の運転資金に充当する予定です。

(注：各項目の計数は少数点第2位を四捨五入しております。そのため合計は差引手取概算額と必ずしも一致しません。)

## 第2【売出要項】

### 1【売出有価証券(オーバーアロットメントによる売出し)】

#### (1)【売出株式】

記名・無記名の別、額面・無額面の別及び種類	売出数	売出価額の総額(円)	売出しに係る株式の所有者の住所及び氏名又は名称
記名式無額面普通株式	1,380,000株	2,277,000,000円 (注4)	東京都千代田区丸の内二丁目5番2号 三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社 1,380,000株

(注1) オーバーアロットメントによる売出しは、本募集に当たり、その需要状況を勘案したうえで、本募集とは別に、本募集の主幹事会社である三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社が当社株主から1,380,000株を上限として借入れる当社普通株式の売出しであります。オーバーアロットメントによる売出しの売出数は上限株数を示したものであり、需要状況により減少し、または売出しそのものが中止される場合があります。三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社は、オーバーアロットメントのために当社株主から借り入れた株式を返却するため、市場にて当社株式を買い付ける場合があります。

(注2) 本募集にかかる新株式の発行を中止する場合には、オーバーアロットメントによる売出しも中止いたします。

(注3) 上記「第1 募集要項 - 1 株式の募集 - (1)新規発行株式 (注2)」に記載のとおり、本募集に係る株式数は変更されることがあり、これが変更された場合にはオーバーアロットメントによる売出数(上限数)も変更される可能性があります。

(注4) 売出価額の総額は、発行価格を本有価証券届出書提出時における想定発行価格(1,650円)と仮定して計算した見込額であります。

(注5) 当社は、2013年12月17日(米国東部標準時間)、SECに対し、当社株式についてForm S-1による登録を行っておりますが、米国内において当社株式を募集しまたは売出す予定はありません。

#### (2)【売出新株予約権証券】

該当事項はありません。

#### (3)【売出社債(売出短期社債を除く。 )】

該当事項はありません。

#### (4)【売出コマーシャル・ペーパー及び短期社債】

該当事項はありません。

#### (5)【売出外国譲渡性預金証書】

該当事項はありません。

#### (6)【売出カバードワラント】

該当事項はありません。

#### (7)【売出預託証券及び売出有価証券信託受益証券】

該当事項はありません。



## 2【売出しの条件 (オーバーアロットメントによる売出し)】

売出価格 (円)	申込期間	申込単位 (株)	申込証拠金	申込受付場所	売出しの委託を受けた者の住所及び氏名又は名称	売出しの委託契約の内容
(未定) (注1)	自2014年2月4日 至 2014年2月7日	100株	(未定) (注1)	三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社の本店および全国各支店	該当なし	-

(注1) 売出価格および申込証拠金は、募集における発行価格および申込証拠金とそれぞれ同一となります。ただし、申込証拠金には利息を付しません。

(注2) 売出しに必要な条件については、2014年2月3日(以下「売出価格決定日」といいます。)に決定する予定であります。

(注3) オーバーアロットメントによる売出しは、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社が当社株主より借入れた当社普通株式の、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による売出しであり、売出株式の引受けは行なわれません。

(注4) 株式受渡期日は、引受人の買取引受による売出しにおける株式受渡期日と同じ上場(売買開始)日の予定であります。

(注5) 申込みは、申込期間内に上記申込受付場所へ申込証拠金を添えて行います。

(注6) 申込みおよび払込みはすべて、当社普通株式の各申込人が上記「申込受付場所」欄記載の金融商品取引業者に開設する外国証券取引口座に適用される外国証券取引口座約款または総合証券取引約款に従ってなされます。かかる外国証券取引口座を開設していない各投資家は、事前にこれを開設しなければなりません。

## 【募集又は売出しに関する特別記載事項】

## (1)【ロックアップについて】

当社株主は、当社普通株式の東京証券取引所のマザーズ市場への上場日(当日を含みます。)から90日間(役員株主の場合は180日間)(以下「ロックアップ期間」といいます。)は三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による事前の書面による同意なしに以下を行わないまたは行わせない旨同意しております。

- (a) ロックアップ期間より前に、当該株主が株主名簿上または実質上保有しており、かつ当該株主が処分権限を持つ、当社普通株式の売却または譲渡
- (b) (i) 当社普通株式に転換もしくは交換できる有価証券の売却または譲渡  
(ii) 当社普通株式を取得する権利を表章する有価証券の売却または譲渡  
(iii) 当社普通株式の保有によって得られる金融利益の全部もしくは一部または当社普通株式の全部もしくは一部を直接または間接的に第三者に譲渡するスワップまたはその他の契約の締結
- (c) 上記のいずれかを実行する意向もしくは合意の公告または発表

さらに、1933年連邦証券法(以下「米国証券法」といいます。)を確実に遵守するため、当社株主は、ロックアップ期間の終了後は米国証券法に基づき提出される登録届出書類に従った場合または米国証券法に基づくルール144に従った場合にのみ上記の取引を行うまたは行わせることができる旨同意しております。

当社は、当社普通株式の東京証券取引所のマザーズ市場への上場日(当日を含みます。)から180日間は、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による事前の書面による同意なしに、(a)当社普通株式を発行、売却または譲渡せず、(b)当社普通株式に転換もしくは交換できる有価証券または当社普通株式を取得する権利を表章する有価証券を発行、売却または譲渡せず、当社普通株式の所有によって得られる金融利益の全部もしくは一部または当社普通株式の全部もしくは一部を直接または間接的に第三者に譲渡するスワップまたはその他の契約を締結せず、かつ(c)上記(a)または(b)のいずれかを実行する意向もしくは合意の公告または発表を行わない旨(本募集にかかる当社普通株式の発行および売却、発行済みのオプションの行使や転換証券の転換に基づく当社普通株式の発行、既存の従業員ベネフィットプランに基づく役員・従業員に対する当社普通株式またはオプションの付与等を除く。)を同意しております。

## (2)【オーバーアロットメントによる売出し等について】

本募集にあたり、その需要状況を勘案した上で、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社が当社株主である窪田良氏(以下「貸株人」という。)より1,380,000株を上限として借り入れる当社普通株式の売出し(オーバーアロットメントによる売出し)を行う場合があります。オーバーアロットメントによる売出しの売出数は、1,380,000株を予定しておりますが、当該売出数は上限の売出数であり、需要状況により減少し、またはオーバーアロットメントによる売出しそのものが全く行われな場合があります。

なお、これに関連して、オーバーアロットメントによる売出しが行われる場合、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社は、本募集の対象となる株式とは別に、オーバーアロットメントによる売出しの売出数を上限として追加的に当社普通株式を取得する権利(以下「グリーンシューオプション」といいます。)を、2014年3月7日(金)を行使期限として、貸株人から付与されます。

また、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社は、2014年2月13日(木)から2014年3月7日(金)までの間(以下「シンジケートカバー取引期間」といいます。)、貸株人から借り入れた株式(以下「借り入れ株式」といいます。)の返還を目的として、東京証券取引所において、オーバーアロットメントによる売出しに係る株式数を上限とする当社普通株式の買付け(以下「シンジケートカバー取引」といいます。)を行う場合があります。三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社はシンジケートカバー取引により取得した全ての当社普通株式は、借り入れ株式の返還に充当されます。なお、シンジケートカバー取引期間内において、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社の判断で、シンジケートカバー取引を全く行わず、またはオーバーアロットメントによる売出しに係る株式数に至らない株式数でシンジケートカバー取引を終了させる場合があります。

オーバーアロットメントによる売出しに係る株式数からシンジケートカバー取引によって取得し借り入れ株式の返還に充当する株式数を減じた株式数について、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社は、グリーンシューオプションを行使する予定であります。

なお、オーバーアロットメントによる売出しが行われるか否かおよびオーバーアロットメントによる売出しが行われる場合の売出数については、売出価格決定日に決定されます。オーバーアロットメントによる売出しが行われない場合は、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による貸株人からの当社普通株式の借り入れ、貸株人からのグリーンシューオプションの付与および東京証券取引所におけるシンジケートカバー取引は行われません。

### (3) 【米国における販売制限】

当社株式は、本募集の一環としてまたは米国における本募集に係る当社株式のSEC登録の効力発生日から90日間は、米国内において直接また間接に募集または売却をすることができません。

### (4) 【募集又は売出しに関するリスクについて】

**当社の普通株式の流通市場は過去になく、本募集後に活況な流通が行われない、あるいは維持されない可能性があり、また、投資家は公開当初の株価以上で保有株式を売却することができない可能性があります。**

本募集前においては、当社の普通株式の公開市場は存在せず、当社は投資家に対して、本募集後に活況な流通が行われること、あるいは維持されることを保証することはできません。発行価格はブックビルディング手続の結果に基づき、当社および引受人の間で取り決められますが、その価格は本募集後の当社の普通株式の市場価格を示すものとは限りません。当社の普通株式の市場価格は発行価格を下回る可能性があり、投資家は発行価格以上で保有株式を転売することができない可能性があります。

当社は当社株式を東京証券取引所のマザーズ市場に上場することを目指していますが、かかる上場を維持することができない可能性があります。

一般的にバイオテクノロジーおよび医薬品会社、特に、臨床段階の会社の株式の市場価格の変動性は従来、極めて大きく、将来においてもそれが続く可能性があります。特定の会社の株式の市場価格の変動が当該会社の業績と無関係であったり、これと比例しないことが過去にもよくありました。市場および業界の要因が当社の業績にかかわらず、当社の普通株式の市場価格を著しく棄損する可能性があります。「第二部 企業情報 第3 事業の状況 - 4 . 事業等のリスク」に記載されているその他の要因のほか、以下の要因は当社の普通株式の市場価格に重大な影響を及ぼす可能性があります。

- ・ 当社の製品候補の、当社による臨床試験結果を含めた開発状況
- ・ バイオテクノロジーおよび医薬品産業、または市場一般に関する市況もしくはトレンド
- ・ 当社の競争企業もしくは当社による技術革新、市販用新製品もしくはその他の重要な事象の発表
- ・ 当社の所有権に関する紛争もしくはその他の状況
- ・ 当社の財務実績に対する証券アナリストもしくは投資家の期待の変化またはその期待に応えられないこと
- ・ 重要な人材の加入もしくは離脱(特に、窪田氏または当社の取締役会の構成員)
- ・ 金融および科学に関する報道機関もしくは証券アナリストによる当社の事業、製品、財務実績、見通しもしくは株価に関する議論、またはアナリストによる報道の欠如
- ・ 薬および薬物送達システムの安全性に関する社会的関心
- ・ 米国、日本およびその他の外国における規制状況

- ・ 価格規制法制の状況を含む、医療支払制度の変化
- ・ 戦争、テロ、自然災害および政情不安を含む、一般的な経済的および政治的要因

過去において、特定の会社の証券の市場価格が一定期間乱高下した後に、証券クラスアクション訴訟がしばしば発生しています。当社はこの種の訴訟を提起される可能性があり、この種の訴訟は最終的に当社に有利な形で決着する場合であっても極めて高額な費用を要し、また経営陣の注意を散漫にすることが多くあります。

**本募集における購入者は直ちに見積り正味有形固定資産簿価の著しい希薄化に直面することになります。**

発行価格は、当社の負債総額を控除した当社の有形固定資産総額を基準にした本募集直後の当社の普通株式1株当りの見積り正味有形固定資産簿価を著しく上回る予定です。したがって、投資家が本募集において当社の普通株式を購入した場合、投資家が当社の普通株式に対して支払う1株当りの価格と2013年9月30日現在のその1株当りの見積り正味有形固定資産簿価との差額についての希薄化に直面することになります。

**本募集後に株式が市場で売却されることにより当社株式の価格は下落する可能性があります。**

本募集後の公開市場における当社普通株式の追加的売却またはかかる売却がなされうとの認識により、当社の株式の市場価格が下落する可能性があります。本募集の完了時に、当社の発行済み普通株式は35,621,959株となる予定であり、そのうち、14,450,231株が、本募集の完了により自動的に普通株式に転換される優先株式および条件付転換債務の保有者によって保有され、11,620,654株が、窪田氏によって保有されます。したがって、かかる当社の資本株式の保有者が相当数の当社普通株式を売却すると、当社の株価に影響を及ぼす可能性があります。

本募集において販売される株式はすべて米国証券法に基づく制限もしくは追加的登録なく、自由に譲渡することができることとなります。当社の取締役、執行役員および既存株主（優先株式および条件付転換債務の保有者を含む。）は、上記「第2 売出要項 - 募集又は売出しに関する特別記載事項 (1) ロックアップについて」の項に記載されるロックアップ契約に拘束されることとなります。当社の取締役および執行役員のロックアップ期間は、東京証券取引所のマザーズ市場における当社有価証券の上場日（以下「上場日」といいます。）から180日間であり、当社の証券保有者のロックアップ期間は、上場日から90日間です。当社の既存株主（優先株式および条件付転換債務の保有者を含みます。）には初期段階の会社に対する投資を専門とする投資ファンドが含まれています。かかる投資家は当社の株式の上場時にその保有株を処分しようとする可能性があります。

修正再表示済投資家の権利に関する契約の条項に従い、本募集の直後に、当社の普通株式合計14,450,231株の所持人は米国証券法に基づくかかる株式の登録に関する権利を有することとなります。「第二部 企業情報 第1 本国における法制等の概要 - 1. 会社制度等の概要 - (1) 提出会社の属する国・州等における会社制度 米国証券法上の登録請求権」をご参照ください。当社がロックアップ期間の終了後にかかる株主の株式の転売を登録した場合、かかる株主はルール144およびルール701の数量およびその他の制限に服することなく、当該株式を公開市場で売却することができます。

**公開会社として、当社は追加の財務等の報告および企業統治の要件に服することになりますが、これらの要件は当社にとり履行困難となる可能性があり、当社の費用を増加させ、また、資源および経営陣の注意が当社の事業経営からそがれる可能性があります。**

当社は従来、非公開会社として活動してきました。本募集後は、当社はSECに対して、米国1934年証券取引所法(改正)(以下「取引所法」といいます。)およびSEC規則に定められる年次および四半期の情報およびその他の報告書を提出することが必要となります。その結果、当社はSECの報告要件を満たした財務諸表を適時に作成することができるようにすることが必要となります。当社はまた、日本国の金融商品取引法に基づく継続開示義務、東京証券取引所のマザーズ市場の上場基準ならびに米国の2002年サーベンス・オクスリー法(以下「SOX法」といいます。)の規定およびこれに基づき公布される規則を含む、その他の報告および企業統治の要件に服することになり、これらは当社に対して新たに重大なコンプライアンス義務を課することになります。公開会社として、当社は特に、以下のことを要求されることになります。

- ・ 米国および日本国の証券法令および東京証券取引所の規則に従い定期的な報告書およびその他の株主への通信を作成し、配布すること
- ・ 当社取締役会およびその委員会の役割および職務を規定し、拡大すること
- ・ より包括的なコンプライアンス、インベスター・リレーションズおよび内部監査機能を策定すること
- ・ SOX法第404条ならびにSECおよび公開会社会計監督委員会(米国)の関連基準および規則の要件に従い、当社の財務報告に対する内部統制制度を評価し、維持し、また、経営陣によるその評価について報告すること
- ・ 上記の活動に関連して、外部の法律顧問および会計士を関与させ、委任すること

東京証券取引所のマザーズ市場の上場基準を満たすため、2014年12月31日に終了する年度より毎年、当社の財務報告に対する内部統制制度の適正につき、経営陣の評価を受けなければなりません。当社はSOX法第404条に従い、当社の財務報告に対する内部統制の包括的な文書化を進めており、また、当社の経営効率を定期的に検証することが求められます。当社がSOX法第404条により要求される統制および手続を適時に実施できない、またはその他SOX法第404条を遵守できない場合、経営陣は当社の財務報告に対する内部統制の適正を証明することができず、また、当社の独立登録会計事務所はまた、これについて報告することができない可能性があります。財務報告に対する適正な内部統制を維持することができない場合、当社は当社の財務情報を適時に報告することができない可能性があります。また、規制上、悪影響を被る、あるいは東京証券取引所のマザーズ市場の上場基準に違反する可能性があります。また、当社および当社の財務諸表の信頼性に対する投資家の信頼が失われることにより、金融市場において否定的な反応が起こる可能性があります。

公開会社になることにより必要とされる変更により、さらなる資源および経営の監視の投入が相当に必要となり、これにより当社の費用は増大し、また、当社のシステムおよび資源にとって重い負担となりえます。その結果、当社の経営陣の注意はその他の事業上の懸案事項からそがれる可能性があります。さらに、これらの要件を満たす統制および手続を実施し、維持することができない可能性があります。有効な内部統制環境を維持できない、あるいは公開会社に課される多くの法律および規則上の要件を満たすことができない場合、当社は当社の財務諸表中に重大な誤りを犯し、その修正再表示を要することになる可能性があります。かかる修正再表示の結果、当社の財務諸表の信頼性に対する公衆の信頼が失われ、また、SECにより当社に対して制裁が科せられる可能性があります。

**将来における当社による株式または債務証券の発行は当社の発行済み普通株式の権利もしくは価値に悪影響を及ぼす可能性があります。**

当社が株式または株式に転換可能な証券の発行により追加資本を調達する場合、さらなる希薄化がその時点における既存の当社株主に対して生じることになり、また、新たな投資家は本募集において発行される普通株式の所持人の権利に優先する権利を有する可能性があります。当社が債務証券の発行により追加資金を調達する場合、当該証券は当社の普通株式の所持人に優先する権利を有する可能性があり、また、当社の事業を制限する条項を定める可能性があります。さらに、将来における資金調達の条件が当社の追加資本調達能力を制限する可能性があり、これにより当社の製品候補のさらなる開発もしくは商品化が遅延し、あるいは阻害されることがあります。

**一定数の株主だけが取締役の選任および株主の承認を要するその他の事項の結果に影響を及ぼすことができることになりません。**

本募集後において、当社の筆頭株主である窪田氏は単独で、当社の発行済み普通株式の約32.6%を所有することになります。窪田氏は取締役の選任および合併、買収またはその他の企業結合取引の承認を含む、当社の株主の承認を要する事項に対して多大な影響を及ぼすことが可能です。このような所有権の集中は当社の支配の変更を阻害し、遅延または阻止することがあり、これにより当社の株主は当社の売却を通してその保有株式のプレミアムを受ける機会を奪われる可能性があり、また当社の株価を毀損する可能性があります。これらの行為は本募集において株式を購入する株主を含め、当社の他の株主の反対を受けた場合であっても、行われる可能性があります。

**当社による手取金の使用は投資家の当社に対する投資につき利益を生まない可能性があります。**

投資家は当社の普通株式に対する投資を通して、本募集の差引手取金が適正に使用されるか否かを評価する機会を得ることはありません。当社の経営陣が本募集の差引手取金を有効に使用しないことにより、当社の事業および財務状態が悪影響を受ける可能性があり、その結果、当社の株価が下落する可能性があります。

**米国ワシントン州法の買収防衛規定は当社の買収をより困難とし、当社の普通株式の市場価格に影響を及ぼす可能性があります。**

当社は米国ワシントン州において設立されたものであるため、所定の条件が満たされる場合を除き、当社および一定の重要な株主との間の一定の企業結合を禁止しているワシントン州会社法第23B章第19条の規定の適用を受けます。かかる規定は当社の支配の変更が当社の株主の利益となる場合であっても、かかる変更を遅延もしくは阻止する効果を有する可能性があります。「第二部 企業情報 第1 本国における法制等の概要 - 1. 会社制度等の概要 (2) 提出会社の定款等に規定する制度」をご参照ください。

**当社は当面、配当を支払う予定はありません。よって、投資家はその投資のリターンとしては株価の上昇に頼らざるをえません。**

当社は当面、当社の普通株式につき現金配当を支払う予定はありません。現金配当の支払いは当社の財務状態、業績、資金需要およびその他の要因にも依存することになり、また、当社の取締役会の裁量によることになります。よって、投資家は当社の普通株式に対するその投資のリターンを得るためには、株価の上昇（もしあれば）に頼らざるをえないことになります。さらに、当社は将来、配当の支払いを契約により制限されるもしくは禁止される可能性があります。

### 第3【第三者割当の場合の特記事項】

該当事項はありません。

#### 第4【その他の記載事項】

1. 新株式発行並びに株式売出届出目論見書の表紙に、発行会社のロゴおよび名称を記載いたします。
2. 新株式発行並びに株式売出届出目論見書の表紙裏に、下記の文言を記載いたします。  
「当社普通株式の発行価格及び取引価格は円貨で表示されます。当社普通株式の配当が円貨以外の通貨によって行われる場合、その配当金を円貨で受け取る場合には、当該配当金の円貨相当額は外国為替相場の変動により影響を受けることがあります。」  
「原文（英文）の財務書類は本目論見書には記載されていませんが、有価証券届出書には記載されております。」
3. 新株式発行並びに株式売出届出目論見書の表紙の次に、以下の内容をカラー印刷したものを記載いたします。

# 新株式発行並びに株式売出届出目論見書

アキュセラ・インク

(Acucela Inc.)



### 事業の概要

当社は米国シアトルに拠点をもち、世界中で数百万人の人々の視力を脅かしている眼疾患を治療し、またはその進行を遅らせるための新しい治療薬の探索および開発を専門とする臨床段階のバイオテクノロジー企業です。

当社は、自社で開発した視覚サイクルモジュレーター (VCM) の経口剤の開発に注力しています。

VCMの適応症

- 加齢黄斑変性 (AMD)
- 糖尿病性網膜症、糖尿病性黄斑浮腫
- スターガート病
- 網膜色素変性症
- 未熟児網膜症など

また、緑内障の治療薬の開発にも取り組んでいます。

### 市場の動向

当社が手がける眼科医薬品セグメントは高齢者増加に伴い、眼科市場内の大規模かつ、成長中のセグメントです。

- 世界的な眼科医薬品市場は2011年の175億米ドルから2023年には347億米ドルへ拡大 (年複利成長率5.9%)
- 米国眼科医薬品市場は2011年の67億米ドルから2023年の127億米ドルへと類似の成長が見込まれている (年複利成長率5.5%)

注：独立の調査会社であるvisiongain社による算定

### ビジネスモデル

当社のビジネスモデルは、大規模かつ未開拓の眼科領域において当社の成長を促すべく、以下の3つの戦略に基づいています。

#### 優れた画期的技術：

現在フェーズ2b/3臨床試験中のリード化合物およびその他開発中の複数のVCM化合物による、VCMのフランチャイズ化の機会

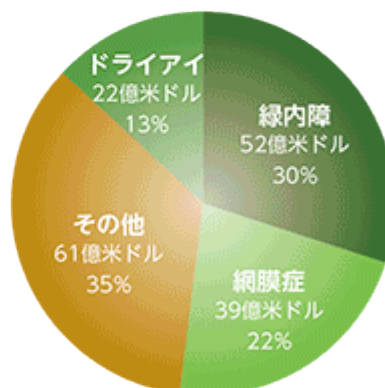
#### 盤石な研究開発体制：

眼科領域における研究および臨床開発の実績・能力

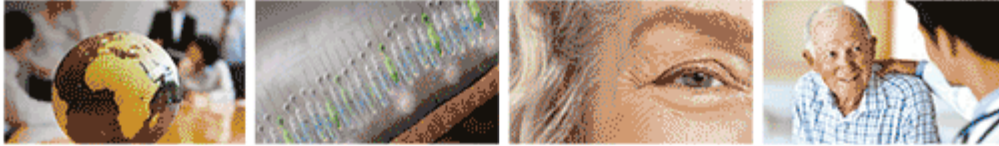
#### 長期的視野に基づく戦略的提携：

日本を拠点とする世界的製薬会社である大塚製薬株式会社との業務提携を軸とした事業展開

### 2011年における世界的処方医薬品市場







## エミクススタト塩酸塩

### AMD治療薬

#### ドライ型AMDに対する最初の治療薬の可能性

AMD治療のために現在開発中の、当社のリードVCM化合物です。AMDは、患者の中心視力の低下を引き起こす網膜の疾患であり、重篤なケースでは中心視力の顕著な不可逆的喪失を招きます。現在、ドライ型AMDの治療法として食品医薬品局 (FDA) に承認されたものはありません。当社は、エミクススタトがドライ型AMDに対する最初の治療薬として商業化される可能性があると考えています。

### エミクススタト塩酸塩：

エミクススタト塩酸塩を疾患の初期段階から投与することにより進行を遅らせ、網膜組織の健康を維持。



## エミクススタト塩酸塩 開発経緯

2010年3月：FDAは、ドライ型黄斑変性 (地図状萎縮 (GA)) の治療のためのエミクススタトの審査を「ファスト・トラック」に指定しました。GAは、ドライ型AMDの最も進行した段階であり\*1) 法的盲を引き起こす場合があります。

エミクススタトはフェーズ1およびフェーズ2a臨床試験において合計179名の被験者に投与され、経口投与を通じた全身性有害事象はほとんど認められませんでした。また、直近のフェーズ2a概念実証試験では、GAを伴うドライ型AMD患者の視覚サイクル調節に対するエミクススタトの用量依存的効果が、エレクトロレチノグラム (ERG) の測定により実証されました。

2013年第1四半期：GAを伴うドライ型AMD患者に対するエミクススタト3用量の安全性および有効性を評価するため、約440名の患者を対象とした、無作為、二重盲検、投与量決定試験であるフェーズ2b/3臨床試験を開始しました。

### エミクススタト塩酸塩： 開発の経緯



\*1) 法的盲とは矯正視力20/200未満をいう。



### VCM化合物

これらの製品候補に加え、当社は、自社が保有するVCMに関する特許を最大限に活し、エミクススタトならびにその他VCM化合物を、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫、スターガート病、網膜色素変性症および未熟児網膜症など、希少な網膜疾患の治療薬候補として開発を進める計画です。

- 糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫
- スターガート病
- 網膜色素変性症
- 未熟児網膜症

### OPA-6566

#### 緑内障治療薬

大塚製薬から付与されたライセンスおよび同社との提携に基づき当社が開発中の製品候補であり、高眼圧症および緑内障の治療のための点眼液です。緑内障は、進行性かつ慢性の疾患であり、適切に治療されなければ視覚機能の低下および失明を招く可能性があります。現在複数の治療法が確立されていますが、どの薬剤も結膜の充血や不整脈など、なんらかの眼局所または全身性の副作用を伴います。独立の調査会社であるFrost & Sullivan社によれば、緑内障患者の約半数は1種類の治療法では目標の眼圧に達成することができず、その多くは2種類ないし3種類の治療薬あるいは外科手術により疾患の進行を抑えていると報告されています。

OPA-6566は、眼内の房水流出を自然に促すことにより眼圧を下降させる新しい作用機序を有していることから、既にFDAから承認済の他の治療法と差別化が可能な期待の高い薬剤候補であると当社は確信しております。

### 視覚サイクルモジュレーター (VCM)

VCMは、当社創業者が見出し開発に着手した新規メカニズムです。

#### 視覚サイクル

視覚サイクルとは、網膜内で光量子（フォトン）が電気信号へと生物学的に変換される仕組みのことをいいます。視覚サイクルは、強い光にさらされると非常に活発化し、排除することのできない有害副産物を生産します。これらの有害副産物の蓄積は、時間の経過とともに視覚サイクルの機能を低下させ、結果的に網膜を損傷します。

#### VCM

視覚サイクルを選択的にモジュレートして最初に桿体細胞を保護することにより、網膜を（さらに言えば視力を）確実に維持することができると考えています。

#### VCMの特徴

- 複数の網膜疾患の根本的原因に対応
- 早期介入
- 広範な適用
- 経口錠剤投与
- 優れた安全性プロファイル



## 製品パイプライン

当社は現在米国において、以下の2つの製品候補の臨床開発を行っています。

1. 経口療法として現在フェーズ2b/3段階にある、AMD治療のためのエミクススタ
2. 米国においてフェーズ1/2段階にある、緑内障治療のためのOPA-6566

以下の表は、当社の製品候補およびその適応症、開発段階、ならびにこれらの製品候補に関する関連特許および地理的権利を示しています。

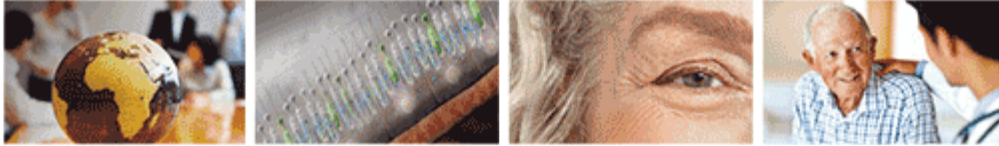
医薬品	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	オリジネーター <sup>(1)</sup>	当社の テリトリー	知的財産権 満了日
VCM エミクススタ塩酸塩	AMD				アキュセラ社	北米(共同)、 EU、南米 及びアフリカ	2029年11月 (延長する場合があります) <sup>(2)</sup>
	DR/DME	糖尿病性網膜症 糖尿病性黄斑浮腫					
		スターガート病、網膜色素変性症、 未熟児網膜症					
その他のVCM及び網膜製品候補		スターガート病、網膜色素変性症、 未熟児網膜症			アキュセラ社	全世界	
OPA-6566	緑内障				大塚製薬	米国(共同) <sup>(4)</sup>	2025年4月 <sup>(4)</sup>

(1) 化合物保有者のことをいいます。

(2) ハッチ・ワックスマン法による特許使用の追加の場合を除きます。

(3) フェーズ2およびフェーズ3臨床試験の完了時に共同開発および共同販売を選択する権利があります。

(4) OPA-6566の特許期間は、そのオリジネーターである大塚製薬により最大で5年間延長できる可能性があります。



## 主要経営陣

### 窪田良 (MD、PhD)

#### 会長、社長兼CEO

当社の創業者。眼科専門医として網膜疾患や緑内障、白内障などの手術の執刀経験を持つ。慶應義塾大学において教員を務めた他、ワシントン大学の医学部において助教授として勤務。1996年に日本眼科医会による眼科専門医の資格を取得、米国眼科学会 (AAO)、視覚眼科学会 (ARVO)、日本眼科学会、慶應医学会の会員。ワシントン州の日米協会の理事。JIGH (社団法人ジェイ・アイ・ジー・エイチ) のアドバイザー。



### デヴィッド・L・ローランス (CPA)

#### 最高財務責任者、会計責任者および秘書役

2011年4月から、当社の最高財務責任者。当社入社前は、2003年3月から2011年4月まで、Cumberland Pharmaceuticals社の副社長兼最高財務責任者。また、BorgWarner社およびCore International社の財務および会計における上級役職を務める。それ以前は、アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーにおいて会計士を務め、複数のヘルスケア、製造、不動産および非営利組織等のクライアントを担当。

ジョージア大学経営学士号取得、公認会計士



### ヘン・デ・ヤング (CHIC、SPHR)

#### 人事担当副社長

2011年7月から、当社の人事担当副社長。当社入社前は、自身のコンサルティング・サービス会社であるDeYong Consultingにおいて、ライフサイエンスおよび医療機器企業のCEOおよび設立者に対する人事関連のコンサルティング・サービスを提供。上級専門職人事管理認定証を保有、予測指標評価アナリスト。





損益計算書データ	12月31日終了年度					9月30日に終了した9か月間	
	2008年 (未監査)	2009年 (未監査)	2010年 (未監査)	2011年	2012年	2012年 (未監査)	2013年 (未監査)
	(単位：1株当たり金額を除き、千米ドル (千円))						
関連当事者との提携からの収益	6,913 (708,167)	27,019 (2,767,826)	36,457 (3,734,655)	34,226 (3,506,111)	46,424 (4,755,674)	35,141 (3,599,844)	41,695 (4,271,235)
費用：							
研究開発費	10,266 (1,051,649)	18,274 (1,871,988)	25,297 (2,591,424)	24,183 (2,477,306)	31,604 (3,237,513)	22,695 (2,324,875)	26,221 (2,686,079)
一般管理費	3,819 (391,218)	6,395 (655,103)	6,632 (679,382)	6,174 (632,464)	7,787 (797,700)	5,953 (609,825)	7,724 (791,246)
費用合計	14,085 (1,442,867)	24,669 (2,527,092)	31,929 (3,270,806)	30,357 (3,109,771)	39,391 (4,035,214)	28,648 (2,934,701)	33,945 (3,477,325)
営業利益	(7,172) (734,699)	2,350 (240,734)	4,528 (463,848)	3,869 (396,340)	7,033 (720,460)	6,493 (665,142)	7,750 (793,910)
その他の収益 (費用) (純額)：							
受取利息	250 (25,610)	15 (1,536)	67 (6,863)	21 (2,151)	27 (2,765)	24 (2,458)	101 (10,346)
支払利息	(170) (17,414)	(183) (18,746)	(122) (12,497)	(143) (14,648)	(138) (14,136)	(104) (10,653)	(88) (9,014)
その他の収益 (費用) (純額)	90 (9,219)	(84) (8,604)	64 (6,556)	39 (3,995)	(97) (9,936)	(21) (2,151)	71 (7,273)
税引前当期利益/ 税引前四半期純利益	(7,002) (717,284)	2,098 (214,919)	4,537 (464,770)	3,786 (387,837)	6,825 (699,153)	6,392 (654,796)	7,834 (802,514)
法人税ベネフィット (費用) (純額)	— (—)	15 (1,536)	4,466 (457,497)	2,480 (254,051)	(2,647) (271,158)	(2,283) (233,870)	(2,723) (278,944)
当期純利益/四半期純利益	(7,002) (717,284)	2,113 (216,455)	9,003 (922,267)	6,266 (641,889)	4,178 (427,994)	4,109 (420,925)	5,111 (523,570)
参加証券に帰属する 当期純利益/四半期純利益				4,584 (469,584)	3,056 (313,056)	3,006 (307,934)	3,735 (382,613)
普通株主に帰属する 当期純利益/四半期純利益				1,682 (172,304)	1,122 (114,937)	1,103 (112,991)	1,376 (140,957)
普通株主に帰属する基本1株当たり 当期純利益/四半期純利益 (米ドル (円))				0.14 (14.34)	0.09 (9.21)	0.09 (9.21)	0.12 (12.29)
普通株主に帰属する仮定基本1株当 たり当期純利益/四半期純利益 (米ドル (円)) <sup>(*)</sup>					0.16 (16.39)		0.20 (20.48)

貸借対照表データ	12月31日現在					2013年
	2008年 (未監査)	2009年 (未監査)	2010年 (未監査)	2011年	2012年	9月30日現在 (未監査)
	(単位：従業員数を除き、千米ドル (千円))					
現金および現金同等物ならびに投資	8,213 (841,339)	15,117 (1,548,585)	19,591 (2,006,902)	19,117 (1,958,345)	23,566 (2,414,101)	21,719 (2,224,894)
運転資本	10,560 (1,081,766)	10,608 (1,086,683)	15,707 (1,609,025)	15,477 (1,585,463)	25,990 (2,662,415)	21,636 (2,216,391)
資産合計	16,424 (1,682,474)	23,638 (2,421,476)	34,809 (3,565,833)	41,495 (4,250,747)	47,024 (4,817,138)	52,483 (5,376,358)
関連当事者との提携からの 短期および長期繰延収益	6,679 (684,196)	2,715 (278,124)	2,557 (261,939)	2,000 (204,880)	2,570 (263,270)	— (—)
関連当事者に対する条件付転換債務 (1年以内満期を含む。)	12,311 (1,261,138)	12,197 (1,249,460)	12,253 (1,255,197)	12,000 (1,229,280)	12,000 (1,229,280)	12,000 (1,229,280)
転換優先株式	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)
累積欠損	(33,998) (3,482,755)	(27,206) (2,786,982)	(18,203) (1,864,715)	(11,937) (1,222,826)	(7,759) (794,831)	(2,648) (271,261)
株主資本合計	(3,977) (407,403)	4,209 (431,169)	14,101 (1,444,506)	20,840 (2,134,849)	25,607 (2,623,181)	31,840 (3,261,689)
従業員数 (人)	23	29	51	76	79	86

キャッシュ・フロー 計算書データ	2008年	2009年	2010年	2011年	2012年	9月30日に終了した9か月間	
	(未監査)	(未監査)	(未監査)			2012年	2013年
	(単位：千米ドル (千円))						
営業活動による キャッシュフロー (純額)	(5,441) (557,376)	7,500 (768,300)	5,905 (604,908)	437 (44,766)	11,246 (1,152,040)	9,984 (1,022,760)	1,018 (104,283)
投資活動による キャッシュフロー (純額)	10,710 (1,097,132)	(3,649) (373,803)	(4,012) (410,989)	(4,093) (419,286)	(3,743) (383,432)	(5,568) (570,385)	(10,912) (1,117,825)
財務活動による キャッシュフロー (純額)	(87) (8,912)	(5) (512)	45 (4,609)	(581) (59,517)	(624) (63,922)	(409) (41,897)	(2,173) (222,602)
現金および現金同等物	8,213 (841,339)	12,059 (1,235,323)	13,997 (1,433,852)	9,760 (999,814)	16,639 (1,704,499)	13,767 (1,410,291)	4,572 (468,355)

- (1) 2011年および2012年の財務データは該当する事業年度の当社監査済財務書類からの抜粋です。当該財務書類は、米国SECに提出された Form S-1および本書の「第6 経理の状況」に含まれており、アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーにより監査済みです。
- (2) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間および2013年9月30日現在の財務データは、未監査の財務書類からの抜粋です。
- (3) 2008年、2009年および2010年の財務情報は、未監査です。
- (4) この金額は、本株式公開の払込時に有効となる現在発行済みの優先株および転換債務の発行済み持分のすべての当社普通株式への転換を、当該転換が表示期間の期首に行われたものとして実施することにより得られるものです。希薄化1株当たりデータおよびその計算に関するより詳細な情報は、財務書類の注記1および2をご参照ください。

## 第二部【企業情報】

### 第1【本国における法制等の概要】

#### 1【会社制度等の概要】

##### (1)【提出会社の属する国・州等における会社制度】

当社は米国ワシントン州法の下で設立され存続する会社です。したがって、当社を規制する法的枠組みは、主として米国連邦法およびワシントン州法です。米国連邦法は、会社の多くの分野に影響を及ぼしており、反トラスト、破産、労使関係、税金および証券等様々な事項に関係しています。連邦証券関係諸法の執行は原則として米国証券取引委員会(以下「SEC」といいます。)が行っています。連邦証券関係諸法およびそれらに基づき制定された規則は、特に詐欺的な手段を用いた有価証券の販売を禁ずるとともに、公開会社に対しては、定期的に財務およびその他の情報をSEC、当社株主および公衆に対して開示することを義務づけています。当社は本募集に関してもこれらの報告義務に服することになります。ワシントン州には、当社の設立準拠法である改訂ワシントン州法典中のワシントン州会社法(以下「ワシントン州会社法」といいます。)など会社に影響を与える多くの法律が存在します。ワシントン州会社法の一部の概要は以下の通りです。

米国における会社は、連邦法、1つの州法またはコロンビア特別区の法に基づき組織された法的主体です。会社は、会社の所有者すなわち会社の株主から切り離された1個の法人として活動します。会社は額面または無額面の1種類以上の株式を発行することが可能です。通常、会社は普通株式または株式資本として知られている種類の株式を有します。また、会社は優先株式として知られている種類の株式を有することができ、かかる株式はしばしば1以上のシリーズに分けられます。典型的には、優先株式は普通株式に優先する権利、優先権および特権を有しており、かかる権利は一定割合の配当および清算時の残余財産に対する権利を含む可能性があります。株主は通常、会社の債務について個人的責任を負いません。

会社は、一般的には年次株主総会において株主により選任された取締役会によってまたはその指示の下に運営されます。一般に、取締役会は非常に広範な権限と柔軟性をもって会社の運営を行い、これについて責任を負います。株主の権限は、

- a) 取締役を選任する権利、
- b) 基本定款に対する重要な変更を承認する権利、および、
- c) 実質上すべての資産の譲渡等会社の事業における重要な変更を承認する権利

を含みます。

一方、取締役会は会社の日常業務を遂行する会社の主要な役員を選任します。会社の取締役会は、通常、定期的開催されます。

主要な役員の任務は会社の付属定款に規定されます。付属定款は、通常、株主によって採択され、基本定款または付属定款に定められた制限を条件として、株主または取締役会によって修正することができます。

ワシントン州会社法は、会社に対し広範な運営の自由を定めています。当社は、特に、設立、株主、取締役および役員の権利および権限、株主総会および取締役会ならびに解散手続を規定するかかる法律の規定に従って組織されています。

## 譲渡制限

本募集において売却される普通株式はすべて自由に売買することが可能となります。

当社の「関連会社」(1933年連邦証券法(以下「米国証券法」といいます。))に基づくルール144に定義されています。)により保有もしくは取得される株式はこの限りでなく、下記のルール144の数量制限およびその他の制限に服することになります。その他の普通株式はルール144に定義されている「制限付き有価証券」となるほか、当社既存株主が保有する当社普通株式については、当社普通株式の東京証券取引所のマザーズ市場への上場日から90日間(役員株主の場合は180日間)は売却しないことに同意する当社および当該既存株主間のロックアップ契約に基づく譲渡制限に服します。制限付き有価証券は米国証券法に基づき登録がなされているか、または特に、以下に略述する米国証券法に基づくルール144およびルール701に規定されている適用除外を含む届出適用除外の適格を有する場合に限り、公開市場において売却することができます。なお、本募集において販売される株式はすべて当社によるForm S-1の提出による登録手続が行われており、したがって、米国証券法に基づく制限もしくは追加的登録なく、自由に譲渡することができることとなります。

### ルール144

原則として、当社の制限付き普通株式を当社の関連会社以外の前所有者の保有期間を含め、6か月以上実質的に所有している者はその株式を売却することができます。ただし、(1)その者がその売却時もしくはその売却前の3か月間のいずれの時点においても当社の関連会社のいずれかであったものとみなされないこと、および(2)当社がその売却前の90日間以上、米国証券法の定期的報告要件の適用を受け、かつ、これを履行している場合に限り、その者が売却案にかかる株式を当社の関連会社以外の前所有者の保有期間を含め、1年以上実質的に所有している場合、当社が米国証券法の報告要件の適用を受け、かつ、これを履行していると否とにかかわらず、当該株式を売却することができます。

当社の制限付き普通株式を6か月以上実質的に所有しているが、その売却時もしくはその売却前の90日間のいずれかの時点において当社の関連会社のいずれかである者はさらなる制限を受けることになり、かかる制限により、その者は転売禁止契約が満了した場合には、3か月間に以下のうちの多い方を上限とする数の株式を売却することができます。

- ・ その時点で発行済の当社普通株式数の1%、および
- ・ その売却に関する様式144による通知の提出に先立つ(暦上)4週間の東京証券取引所のマザーズ市場における当社普通株式の週当たりの平均出来高。

ただし、各場合において、当社がその売却前の90日以上、米国証券法の定期的報告要件の適用を受けていることを条件とします。また、関連会社によるかかる売却はルール144の売却および通知規定の方式を遵守しなければなりません。

### 米国証券法上の登録請求権

当社は、当社転換優先株式および当社条件付転換債務の所持人との間の修正再表示済投資家権利契約の当事者です。同契約上、かかる当社転換優先株式および条件付転換債務の所持人は当社普通株式合計14,450,231株(本項において、「登録可能証券」といいます。)につき、一定の米国証券法上の登録請求権を有しています。かかる登録請求権により、かかる所持人は本書の他の箇所に記載されているロックアップ規定の終了後、適用あるSECへの登録届出書類が有効である旨の宣言がなされたときは、米国証券法上、何らの制限なく(公開市場においても)登録可能証券の募集および販売が可能となります。



一定の状況の下で、当社が当社株式を自己の計算により、または他の有価証券所持人の計算により登録する場合、登録可能証券の所持人は自己の株式を当該登録に加える権利を有します。ただし、かかる権利は本募集、当社の従業員給付制度のいずれかに関する登録、登録対象となる株式が同様に登録対象となる債務証券の転換により発行可能な株式に限られる場合の登録、または登録可能証券を対象とする登録届出書に包含することを要する情報と実質的に同一の情報を包含していない様式による登録には適用されません。引受けられた募集の幹事引受会社は自己の単独の自由裁量により、販売上の都合により、かかる所持人により登録される株式数を制限する権利を有し、その場合、登録される株式数はかかる所持人が加える権利を有する有価証券の総額に応じて、またはかかる所持人相互間で合意する方法により、かかる所持人間で按分比例方式により配分します。ただし、限られた状況下においてのみ、かかる所持人により登録される株式数は当該登録届出書の対象とされる総株式数の10%未満に引き下げられます。

当社は引受割引額および手数料を除き、登録可能証券の登録に関して負担されるすべての費用を支払うことを要します。投資家権利契約に基づき、当社は登録可能証券の所持人に対して、米国証券法上の責任を含め、州および連邦の証券諸法上の特定の責任につき補償することに同意しています。いかなる登録可能証券の所持人も(a)本募集の完了後5年、(b)当社の関連会社でない所持人について、当該所持人が保有する登録可能証券がすべて米国証券法に基づくルール144に基づき登録なしでいずれかの3か月間で売却することができる、(c)支配権の変更に至る吸収合併もしくは新設合併の結了、または(d)当社の資産の全部もしくは実質上全部の売却、のいずれかが最初に発生した後は、投資家権利契約上の登録請求権を有しなくなります。

## ワシントン州の買収防衛法制

ワシントン州法は会社と重要な株主間における一定の取引に制限を課しています。ワシントン州会社法第23B章第19条は一般的に、対象会社が特定の「重要な商取引」を「買収者」との間で行うことを禁止しています。同法は当社に関する合併またはその他の買収もしくは支配の変更の試みの成就を阻止もしくは遅滞させる可能性があり、そのため、当社買収の試みを阻害する可能性があります。買収者とは、一般的に、対象会社の議決権のある株式持分の10%以上を実質的に所有している者またはその集団と定義されています。対象会社はかかる者が買収者となった取引の日から5年間は重要な商取引を行うことができません。ただし、(a)重要な商取引または買収者による株式の買取りが当該買収者による株式取得に先立ち対象会社の取締役会の構成員の過半数により承認されていた場合、または、(b)重要な商取引が当該買収者による株式取得のとき、もしくはその後に対象会社の取締役会の構成員の過半数により承認され、かつ、株主総会において発行済の議決権ある株式(当該買収者の株式または当該買収者が議決権につき支配権を有している株式を除きます。)の3分の2以上により承認された場合はこの限りではありません。重要な商取引には、就中、以下のものが含まれます。

- ・ 買収者との間の合併もしくは株式交換、買収者に対する資産の処分、または買収者に対するもしくは買収者からの株式の発行もしくは償還、
- ・ 買収者による10%以上の株式の取得に伴い5年間で、ワシントン州において雇用されている対象会社の従業員の5%以上を解雇すること、
- ・ 買収者が株主として不相応の便益を受けることが認められる取引、および
- ・ 対象会社を清算もしくは解散すること。

上記の5年間の経過した後は、重要な商取引を行うことができます。ただし、当該商取引が会社法第23B章第19条所定の公正価格の規定に従ったものであるか、または株主総会において当該取引につき独立して議決権を行使することができる各投票グループに算入される適格を有している議決権(当該買収者が実質的所有権または議決権につき支配権を有している株式の議決権は算入しません。)の過半数により承認される場合に限られます。会社は本規定を「排除する」ことはできません。

## (2) 【提出会社の定款等に規定する制度】

当社の普通株式および優先株式の権利ならびに当社の修正再表示済み基本定款および修正再表示済み付属定款の関連規定に関する以下の記述は要約であり、本募集の完了に関連して効力を生ずることになる当社の修正再表示済み基本定款および修正再表示済み付属定款を参照することにより修正されます。当社の株式資本に関する以下の記述は本募集の完了時もしくはその前に発生する変更を反映しています。

当社の授権株式数は無額面株式112,452,514株であり、このうちの60,000,000株は普通株式、52,452,514株は優先株式と指定されております。

### 普通株式

**議決権** 当社普通株式の株主は、株主の決議の対象とされるすべての事項につき、1株当たり1議決権を与えられています。

**配当の権利** 発行済優先株式に適用されうる優先権を条件として、普通株式の株主は、法的に利用可能な資金から、取締役会によって宣言される配当を比例的に受領する権利を有します。現在のところ、当社は配当を支払う予定はありません。

**清算時の権利** 当社の清算、解散または整理の場合、普通株式の株主は、債務および発行済優先株式の清算優先権を弁済した後のすべての残余財産の分配を比例的に受ける権利を有します。

**償還** 普通株式に適用される償還の規定はありません。

**新株引受権** 普通株式について、新株引受権は存在しません。

**全額払込済で追加払込義務はない** 発行済普通株式および本募集の完了時に発行される予定の普通株式はすべて全額払込済でありかつ追加払込義務はありません。

### 株主総会

ワシントン州会社法および当社の付属定款は2種類の株主総会、年次総会および臨時総会について規定しています。当社は毎年、当社取締役会の過半数により定められる日時に、取締役を選任することおよびその他適切に上程される事項を審議することを目的として総会を招集しなければなりません。

株主総会を招集するには、書面による事前の通知を必要とします。通知書には当該株主総会の場所および日時、また、臨時総会にあってはその招集の目的を記載しなければなりません。かかる通知は当該総会の通知を受ける権利または当該総会にて議決権を行使することができる権利を有する各株主（すなわち、当社取締役会が定める（会日の10日以上70日前までの）日における名簿上の株主）に対して、会日の10日以上60日前までに発せられなければなりません。ただし、当社の基本定款の改正、合併もしくは株式交換計画、通常の業務によらない当社の資産の全部もしくは実質的に全部の売却、貸借、交換もしくはその他の処分または当社の解散につき審議する総会の通知はこの限りでなく、かかる通知は会日の20日以上60日前までに発せられなければなりません。

株主総会においては議決権を行使することができる株式の過半数が株主本人もしくは代理人により代表されていないときは、いかなる議事も行うことができません。取締役は議決権の相対多数により選任され、すなわち、最多数の「賛成」票を獲得した候補者が選任されます。原則として、株主総会に提出されるその他の議事は当該事項につき投じられた「賛成」票の相対多数により承認することができます。ただし、当社の基本定款の一定の改正、合併もしくは株式交換、通常の業務によらない当社の資産の全部もしくは実質的に全部の売却および当社の解散等、一定の会社にかかる基本的な変更には、基準日現在発行済株式の過半数による承認を必要とします。

現在、当社は配当の宣言および支払いの義務はありません。配当はワシントン州法に基づく一定の支払能力およびその他の要件に従っていることを条件として、当社取締役会の自由裁量により単独で宣言および支払いをなすことができます。配当宣言がなされたときは、当社取締役会は株主総会において議決権を行使することができる株主を定める方法と同様の方法により、配当を受けることができる株主のため基準日を定めることが必要となります。

## 取締役会

当社の基本定款および付属定款ならびにワシントン州会社法に定める一定の制限に従い、配当宣言および株式の発行を含むすべての会社の権能は当社取締役会によりまたはその授権に基づき行使され、また、当社の事業および業務は、当社取締役会の指示のもとで運営されます。原則として、当社取締役会は買収、配当、株式の発行、役員報酬、重要な契約の締結等、最も戦略的もしくは重要な会社の行為を承認しなければなりません。当社取締役会は当社の日常業務を管理すべき責任はなく、これらは当社取締役会により選任され、その監督下にある当社の主要な役員が行います。

当社取締役会の行為は取締役全員が署名する同意書により、または定足数（すなわち、そのときに在任している取締役の員数の過半数）が満たされた取締役会において承認することができます。当社取締役会に出席している取締役の過半数の行為は当社取締役会の行為であるものとみなされます。ただし、当社の付属定款もしくは基本定款またはワシントン州会社法により過半数より多くの賛成が要求されている場合、または定足数が満たされていない場合はこの限りではありません。

一定の例外を除き、当社取締役会の構成員は当社の行為または取締役としての自己の決定につき責任を負いません。ただし、当該取締役が誠実に、同様の地位にある通常の判断能力のある者が同様の状況下で払う注意をもって、かつ、当該取締役が当社の最善の利益になるものと合理的に信ずる態様により行為する場合に限られます。当社の基本定款は当社の取締役の金銭的損害賠償責任をワシントン州会社法の許容する上限まで制限する規定を置いています。その結果、取締役は取締役としての行為に対する金銭的損害賠償につき、当社もしくは当社の株主に対して個人的に責任を負うことはありません。ただし、以下に対する責任についてはこの限りではありません。

- ・ 取締役による意図的な違反行為、
- ・ 取締役による故意の法律違反、
- ・ 改訂ワシントン州法典23B.08.310に規定する違法な分配、または
- ・ 当該取締役が法的な権利を有していない金銭、財産もしくはサービスによる利益を個人的に受けることになる取引。

当社は付属定款において、当社の取締役もしくは役員であるもしくはあった、または当社の要請により、他の会社、パートナーシップ、合併事業、信託もしくはその他の企業の取締役もしくは役員を務めているもしくは務めていたことを理由として、いずれかの裁判、訴訟もしくは訴訟手続の当事者となりもしくはなった、または当事者とされるおそれのある者に対して、当社が補償し、損害を被らせない旨、規定しています。当社の付属定款はまた、限定された例外を除き、訴訟もしくは訴訟手続の最終的な処分の前に取締役もしくは役員またはこれらの代理人が負担する費用を当社が前払いしなければならない旨、規定しています。

かかる付属定款の規定に基づき、当社は、当社の取締役および役員に対して、取締役もしくは役員としての受託者義務の違反またはその他の違法行為を理由として提起される請求（公募証券の事項に関する請求を含みます。）より生ずる損失を保証し、また当社に対して、当社の補償義務に基づきまたはその他、法律によりかかる役員および取締役に対して当社よりなされることのある支払いにつき、その規定に従って保証する保険契約に加入しています。

本募集の完了前に、当社はワシントン州会社法に定められている特別の補償規定よりも広範となる可能性がある補償契約を当社の各取締役および各業務執行役員との間で締結する予定です。

## 委員会

ワシントン州会社法および当社の付属定款は、当社取締役会は、適用法律ならびに当社の基本定款、付属定款および当社取締役会において定められる条件に従い、2名以上の取締役のみで構成される常設または臨時の委員会を設置し、当社取締役会が適切であると思料する権限をかかる委員会に付与することができる旨、規定しています。各委員会は当該委員会を設置する当社取締役会の決議およびその後、同様の方法により採択される決議において定められる範囲で、当社取締役会のすべての権限を保有するものとし、かつ、かかる権限を行使することができます。ただし、かかる委員会のいずれも分配の承認、当社取締役会またはその委員会の欠員の補充、定款の変更または株主の承認を必要としない合併計画の承認等、一定の行為をなす権限は有しないものとします。

当社取締役会は監査委員会、報酬委員会および指名委員会を設置しています。これらの委員会に対してはそのそれぞれの目的（例えば、報酬委員会については執行役員報酬の決定、監査委員会については当社の財務諸表の監査の監督）に関連する権能、権限および責任が授与されています。これらの委員会の委員は辞任するまで、または当社取締役会が別途定めるときまで在職します。

## 役員

当社取締役会は当社の日常業務を遂行する当社の主要な役員を選任します。主要な役員の職務は当社の付属定款に定められています。当社の付属定款に従い、当社の役員は当社取締役会により、または取締役会によりもしくは当社の付属定款に基づきその権限を付与されたその他の役員により随時、選任される役員とします。ただし、当社取締役会は社長、主要な事業単位、部門もしくは職務を担当する副社長または政策決定職務を遂行するその他の役員を選任する単独の権限および権能を有しています。社長は当社の最高経営責任者として、特に、当社の総括経営者として行為し、当社の事業および業務に対する総括的な監督、指図および支配権を有し、かつ、当社のすべての役員、代理人および従業員を監督および統制する権限を有します。

「第2 企業の概況 - 3 . 事業の内容」もご参照ください。

当社取締役会および当社取締役会の委員会については、「第5 提出会社の状況 - 5 . コーポレート・ガバナンスの状況等」をご参照ください。

## 2【外国為替管理制度】

アメリカ合衆国においては、外貨の所有または譲渡についていかなる制限も存在せず、したがって、アメリカ合衆国の非居住者による国内会社の株式の取得、アメリカ合衆国の非居住者に対する配当もしくは売却代金の送金または清算に際しての資産の分配に影響を及ぼすと思われるかかる管理上の制限は存在しません。

### 3【課税上の取扱い】

#### (1) 米国の課税上の取扱い

##### 非米国人保有者に対する重要な合衆国連邦所得税および相続税の影響

以下は、当社普通株式の所有および処分に関する非米国人保有者（以下に定義します。）に対する重要な合衆国連邦所得税および相続税の影響の要約であります。これらに関するすべての潜在的な租税上考察すべき事項の網羅的分析を意図したものではありません。本要約は、本書提出日現在の1986年合衆国内国歳入法(その後の修正を含みます。以下「内国歳入法」といいます。)、同法に基づいて定められる財務省規則（以下「財務省規則」といいます。）ならびに行政上の決定および司法上の決定に基づくものであり、これらはいずれも今後、変更される可能性があり、その場合、遡及的に効果が生じる場合があります。また、以下に要約する合衆国連邦所得税および相続税の影響と異なるものとなる可能性があります。当社は以下の要約において行っている記載および得られた結論について内国歳入庁（以下「内国歳入庁」といいます。）の決定を求めておりません。したがって、内国歳入庁がかかる記載および結論を承認するかについてはいかなる保証もありません。

この要約は、州、地方、合衆国外またはその他の課税管轄区域の法律から生ずる租税上考慮すべき事項を扱うものではなく、当社普通株式を内国歳入法第1221条にいうキャピタル・アセット(原則として投資目的で保有される財産)として保有しようという投資家に限定されます。この要約は、非合衆国保有者以外の者に適用される税効果を扱うものではありません。さらに、この要約は、特定の非合衆国保有者に対して、その者の事情にかんがみて、また、以下のような特別のルールの適用を受けうる一定の種類非合衆国保有者に対して重要となりうるすべての税効果を扱うものではありません。

- ・ 銀行、保険会社またはその他の金融機関（特に以下に記載する場合は除きます。）、
- ・ 代替的最低課税制度の適用を受ける者、
- ・ 非課税機関または税制適格退職年金、
- ・ 被支配外国法人、受動的外国投資会社および合衆国連邦所得税を回避するために利益を蓄積する法人、
- ・ 有価証券または通貨のディーラー、
- ・ 自己の保有する有価証券につき時価会計方式の適用を選択する証券ディーラー、
- ・ 当社の株式資本の5%超を保有している、または保有しているとみなされる者（特に以下に記載する場合は除きます。）、
- ・ 一定の合衆国市民であった者または合衆国の長期の居住者、
- ・ 当社の株式をヘッジ取引、「ストラドル」、「コンバージョン取引」またはその他のリスク軽減取引におけるポジションとして保有する者、または
- ・ 内国歳入法の推定的売却規定に基づき当社普通株式を売却したとみなされる者。

さらに、パートナーシップ（合衆国連邦所得税の目的上、パートナーシップとして分類されている一切の事業体を含みます。）が当社普通株式を保有している場合、パートナーの税制上の取扱いは、通常当該パートナーの地位および当該パートナーシップの事業により決定されます。したがって、当社普通株式を保有しているパートナーシップおよび当該パートナーシップのパートナーは、各自の税務専門家からの助言を求めべきです。

非米国人保有者に対する重要な合衆国連邦所得税および相続税の影響についての以下の考察は一般的な情報提供のみを目的とするものです。合衆国連邦所得税法の各自の特殊事情に対する適用、ならびに合衆国連邦の相続税もしくは贈与税ルールに基づき、または個々の州、地方、合衆国外またはその他の課税管轄区域の法律に基づき、または適用ある租税条約に基づき生じる当社普通株式の買取り、所有および処分の税務上の影響については、自身の税務専門家からの助言を求めらることをお勧めします。

## 非米国人保有者の定義

本項の考察において、以下( )ないし( )に該当しない保有者は非米国人保有者となります。すなわち、( )合衆国市民または合衆国の居住外国人、( )合衆国、合衆国の各州またはコロンビア特別区の法律に基づいて、またはそこにおいて設立されたまたは組織された、合衆国連邦所得税法上の会社として課税対象となる会社もしくはその他の法人、( )遺産財団のうち、その収益が合衆国連邦所得税の課税対象となるもの(収入がいずれから生じるかは問いません。)、および( )信託のうち、合衆国内の裁判所の第一次的監督に服し、かつ1人以上の米国人にそのすべての重要な決定について管理する権限が与えられているか、または適用ある合衆国財務省規則に従って、米国人として取り扱われることを適法に選択しているもの。個人の場合は、多くの場合、1歴年のうち31日以上、かつ当暦年に終了する3か年中、合計183日以上合衆国に居住することにより、非居住外国人ではなく、居住外国人とみなされることがあります。かかる目的上、当年における全居住日数、前年における居住日数の3分の1および前々年における居住日数の6分の1が算定の基礎となります。上記に代わるテストが合衆国の所得税条約の利益を受ける適格を有する個人に適用される可能性があります。居住外国人は合衆国の市民とみなされて合衆国連邦所得税を課せられ、したがって、非米国人保有者ではありません。かかる個人は当社普通株式の所有および処分合衆国連邦所得税の影響について、各自の税務専門家からの助言を求めることをお勧めします。

## 普通株式に対する配当

当社が当社普通株式につき配当を行う場合、これらの配当は一般的に、合衆国連邦所得税の原則に基づき定められるところに従い、当社の当期および累積の収益および利益より支払われる限度で合衆国連邦所得税上の配当となります。かかる配当が当社の当期の収益および利益と当社の累積の収益および利益の双方を超過する場合は、その超過分は資本の償還となり、まず、各株主の当社普通株式の基礎価額を引き下げ(最大ゼロまで)、次に、株式の売却益として扱われることとなります。

各株主に支払われる配当は一般的に、配当総額に対して税率30%または適用ある所得税条約により定められるこれより低率の源泉徴収の対象とされます。条約による低減税率を受けるためには、当社に対して当該低減税率の適格性を適正に証明する内国歳入庁申告書W-8BEN(または適用あるその後継の申告書)を提出しなければなりません。かかる証明書は配当の支払いに先立ち、当社または当社の支払代理人に対して提出することを要し、かつ、定期的に更新しなければなりません。所得税条約に従い、低減源泉徴収税率の適格を有することができる場合、内国歳入庁に対して適切な還付請求書を提出することにより、超過源泉徴収額の還付を受けることができます。金融機関またはその他の代理人を通じて当社普通株式を保有している場合は、適切な書類をかかる代理人に対して、直接もしくはその他の仲介機関を通じて提出しなければならず、かかる代理人は証明書を当社または当社の支払代理人に対して提出しなければなりません。

株主が受領する配当が当該株主による米国での取引または事業の遂行と実質的に関連を有している場合(かつ、所得税条約が適用される場合、かかる配当が当該株主がアメリカ合衆国において設置している恒久的施設に帰せられる場合)には、源泉徴収税を免除されます。かかる免除を受けるためには、当社に対して当該免除を適正に証明する内国歳入庁申告書W-8ECI(または適用あるその後継の申告書)を提出しなければなりません。実質的に関連を有している配当は源泉徴収の対象とはされませんが、適用ある所得税条約が別途定める場合を除き、一定の控除の上、米国人に適用されると同一の累進的なアメリカ合衆国連邦所得税率による課税に服します。さらに、法人の非米国人保有者は、その実質的に関連を有している収益および利益につき、一定項目の調整後、30%(または適用ある所得税条約により定められるこれより低率)に相当する税率のブランチ・プロフィット・タックスの課税対象にもなります。個人ではない団体である一定の非米国人保有者に対しては、特別の証明およびその他の要件が適用されます。

## 普通株式処分所得

源泉徴収に関する最近の法律の展開に関する下記の考察を前提として、株主は、原則として、当社普通株式の売却もしくはその他の処分に基づき生じる所得について、合衆国連邦所得税の対象となりません。ただし、以下の場合はこの限りではありません。

- ・ 当該所得が当該株主による米国での取引または事業の遂行と実質的に関連を有している場合（かつ、所得税条約が適用される場合、かかる所得が当該株主がアメリカ合衆国において設置している恒久的施設に帰せられる場合）、
- ・ 当該株主が売却もしくは処分が行われた課税対象年度において合衆国に合計183日以上の間、居住する個人であり、かつその他一定の条件が満たされた場合、または
- ・ 当該処分がなされるまでの5年間と当該株主の当社普通株式保有期間のうちいずれかの短い期間内のいずれかの時点において、当社が合衆国連邦所得税上の「合衆国不動産保有会社」の地位にあったため、当社普通株式が合衆国不動産持分となる場合。

株主が上記第1号に該当する場合、当社普通株式の売却もしくは処分より生ずる純所得につき、（一定の控除の上）米国人に適用されると同一の累進的なアメリカ合衆国連邦所得税率により納税することを要し、法人の非米国人保有者である場合は、30%または適用ある所得税条約により定められるこれより低率のブランチ・プロフィット・タックスの課税対象とされることがあります。上記第2号に該当する場合は、当社普通株式の売却もしくは処分より生ずる所得につき、均一30%の税金を納付しなければなりません。かかる税金は（当該株主が合衆国の居住者とみなされない場合であっても）合衆国源泉資産売却損と相殺することができます。

当社は現時点において合衆国不動産保有会社ではなく、また将来、合衆国不動産保有会社となるとは考えておりません。しかしながら、当社が合衆国不動産保有会社であるか否かは当社の合衆国不動産の時価と当社のそれ以外の事業資産の時価との対比により判断されるため、当社が将来、合衆国不動産保有会社にならないという保証はありません。ただし、当社が合衆国不動産保有会社になったとしても、当社普通株式が既存の証券市場において定期的に取り引されている限り、当社普通株式は当該株主が実際にまたは解釈上、内国歳入法において定められる適用期間中のいずれかの時点においてかかる定期的に取り引されている普通株式の5%超を保有している場合に限り、合衆国不動産持分として扱われることとなります。

## 連邦相続税

死亡の時点において（連邦相続税法上、特に定義されます。）合衆国の市民もしくは居住者でない個人により実質的に所有されていた当社普通株式は連邦相続税上、当該死亡者の総遺産に含まれることになり、よって、適用ある相続税条約が別途規定する場合を除き、株主は米国連邦相続税を課せられる可能性があります。

## バック・アップ源泉徴収および情報報告

一般的に、当社は毎年、内国歳入庁に対して株主に対して支払った配当金額、その氏名および住所ならびに源泉徴収税額（もしあれば）を適用ある租税条約により源泉徴収が軽減もしくは除外されていると否とを問わず、報告しなければなりません。同様の報告書は当該株主にも送付されます。

適用ある所得税条約もしくはその他の協定に従い、内国歳入庁はかかる報告書を当該株主の居住国の課税当局に提供する場合があります。

当社普通株式に対する配当の支払いまたはその売却もしくは処分の総手取額は、非米国人保有者が例えば、自己の非米国人としての地位を申告書W-8BENまたは内国歳入庁申告書W-8 (またはその後継の申告書) の適用書式において適法に証明することにより適用除外を証明する場合を除き、情報報告およびバック・アップ源泉徴収の対象とされることがあります。現行の適用法律の下において、バック・アップ源泉徴収率は28%であります。上記にかかわらず、バック・アップ源泉徴収および情報報告は当社または当社の支払代理人のいずれかが当該株主が米国人であることを実際に知っている、または知る理由がある場合に適用されることがあります。

バック・アップ源泉徴収は付加税ではありません。バック・アップ源泉徴収ルールに基づき株主に対する支払いから源泉徴収される金額は当該株主の合衆国連邦所得税債務に対する控除として認められ、当該株主に還付請求権を与えることがあります。ただし、必要な情報または申告書が内国歳入庁に対して適時に提出されていることが条件とされます。

### 追加的源泉徴収義務

2010年に制定された法律および行政指導に基づき、30%の合衆国連邦源泉徴収税が2013年12月31日より後に支払われる配当および2016年12月31日より後になされる当社普通株式の処分の総手取額に適用されることがありますが、その支払いを受ける者が以下の( )および( )に該当する各場合に適用されます。すなわち、( )「外国の金融機関」(当該法律において特に定義されています。)。ただし、かかる外国の金融機関は実質所有者であるか仲介機関であるかを問わず、かかる機関の合衆国における「口座」保有者(当該法律において特に定義されています。)を確認、報告および開示することに同意し、かつその他のいくつかの特定の要件を満たしている場合はこの限りではありません。( )外国の非金融事業体。ただし、かかる外国の非金融事業体は実質所有者であるか仲介機関であるかを問わず、当該支払いの実質所有者が実体的米国人所有者を有していない旨の証明書を提出するか、またはかかる各実体的米国人所有者の氏名、住所および納税者番号を提出し、かつ、その他のいくつかの特定の要件が満たされている場合はこの限りではありません。一定の場合、当該外国の金融機関または外国の非金融事業体は上記のルールの適用除外の適格を有するか、あるいはかかるルールを遵守しているものとみなされることがあります。株主は、かかる法律ならびにそれが自身の当社普通株式の所有および処分に関係するものであるか否かについて、自身の税務専門家からの助言を求めるべきです。

**合衆国連邦所得税および相続税の影響についての上記の考察は一般的な情報提供のみを目的とするものです。それは税務にかかる助言ではありません。各投資予定者は当社普通株式の買取り、保有および処分に対する特定の合衆国連邦、州、地方および外国の税効果について、提案されている適用法律の変更を含め、自身の税務専門家からの助言を求めるべきです。**

### (2) 日本国の課税上の取扱い

適用ある租税条約、所得税法、法人税法、相続税法ならびにその他の現行および関連する日本国の法律および規則を遵守し、それらの法律および規則の制限に従うことを条件として、日本国の個人または日本国の法人は、当該個人または法人の所得(および、個人に関しては遺産)に対して課せられたアメリカ合衆国の租税と日本国において納付すべき租税を相殺するために外国税額控除を請求することができます。上記にかかわらず、日本国の個人が当社の株式資本につき受け取った配当について、確定申告不要制度申請をして総合課税対象所得から差し引くことを選択した場合には、外国税額控除を請求することはできません。

なお、「第8 本邦における提出会社の株式事務等の概要 - 2 . 日本における実質株主の権利行使方法 - (8)本邦における課税」をご参照ください。

本概要は、一般的な情報提供目的のみのために提供されており、法律上または税務上の助言を構成するものではありません。株主は、当社の株式資本の所有により生じる具体的な税務上の影響を判断するためには自身の税務専門家からの助言を求めるべきです。



#### 4【法律意見】

当社の米国法律顧問であるFenwick & West LLPから関東財務局長に対して、本書面記載の合衆国連邦法およびワシントン州法に関する記述はすべての重要な点において正確である旨の法律意見書が提出されています。

## 第2【企業の概況】

## 1【主要な経営指標等の推移】

以下の表は、当社の事業に関する過去の財務データの概要を示したものです。

2011年および2012年12月31日に終了した年度の損益計算書およびキャッシュ・フロー計算書のデータならびに2011年および2012年12月31日現在の貸借対照表データは、本書に含まれる当社の監査済財務書類から抜粋されたものです。2012年および2013年9月30日に終了した9か月間の損益計算書およびキャッシュ・フロー計算書のデータならびに2013年9月30日現在の貸借対照表のデータは、本書に含まれる未監査の財務書類から抜粋されたものです。未監査の9か月間の財務情報は、年次財務情報と同様の基準により作成され、経営者の意見によれば、2013年9月30日現在の当社の財務状態ならびに2012年および2013年9月30日に終了した9か月間における経営成績およびキャッシュ・フローを公正に表示するために必要な通常の反復的調整を含むすべての調整を反映しています。9か月間の成績は、必ずしも年次の経営成績を示唆するものではありません。2008年、2009年および2010年12月31日に終了した年度の未監査の損益計算書およびキャッシュ・フロー計算書のデータならびに2008年、2009年および2010年12月31日現在の貸借対照表のデータは、当社の未監査の財務書類から抜粋されたものです。

かかる情報は、「第3 事業の状況 - 1.業績等の概要」および「第3 事業の状況 - 7.財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析」ならびに「第6 経理の状況」に記載される当社の財務諸表、関連する注記およびその他の財務情報と共にお読みください。本項における要約財務データは、当社の財務諸表に代わることを意図されたものではなく、当社の財務諸表および関連する注記によって完全となるものです。

損益計算書データ	12月31日終了年度					9月30日に終了した 9か月間	
	2008年 (未監査)	2009年 (未監査)	2010年 (未監査)	2011年	2012年	2012年 (未監査)	2013年 (未監査)
(単位：1株当たり金額を除き、千米ドル(千円))							
関連当事者との提携からの収益	6,913 (708,167)	27,019 (2,767,826)	36,457 (3,734,655)	34,226 (3,506,111)	46,424 (4,755,674)	35,141 (3,599,844)	41,695 (4,271,235)
費用：							
研究開発費	10,266 (1,051,649)	18,274 (1,871,988)	25,297 (2,591,424)	24,183 (2,477,306)	31,604 (3,237,513)	22,695 (2,324,875)	26,221 (2,686,079)
一般管理費	3,819 (391,218)	6,395 (655,103)	6,632 (679,382)	6,174 (632,464)	7,787 (797,700)	5,953 (609,825)	7,724 (791,246)
費用合計	14,085 (1,442,867)	24,669 (2,527,092)	31,929 (3,270,806)	30,357 (3,109,771)	39,391 (4,035,214)	28,648 (2,934,701)	33,945 (3,477,325)
営業利益	(7,172) ((734,699))	2,350 (240,734)	4,528 (463,848)	3,869 (396,340)	7,033 (720,460)	6,493 (665,142)	7,750 (793,910)
その他の収益(費用)(純額)：							
受取利息	250 (25,610)	15 (1,536)	67 (6,863)	21 (2,151)	27 (2,765)	24 (2,458)	101 (10,346)
支払利息	(170) ((17,414))	(183) ((18,746))	(122) ((12,497))	(143) ((14,648))	(138) ((14,136))	(104) ((10,653))	(88) ((9,014))
その他の収益(費用)(純額)	90 (9,219)	(84) ((8,604))	64 (6,556)	39 (3,995)	(97) ((9,936))	(21) ((2,151))	71 (7,273)
税引前当期利益 / 税引前四半期純利益	(7,002) ((717,284))	2,098 (214,919)	4,537 (464,770)	3,786 (387,837)	6,825 (699,153)	6,392 (654,796)	7,834 (802,514)
法人税ベネフィット(費用)(純額)	— (—)	15 (1,536)	4,466 (457,497)	2,480 (254,051)	(2,647) ((271,158))	(2,283) ((233,870))	(2,723) ((278,944))

当期純利益 / 四半期純利益	(7,002)	2,113	9,003	6,266	4,178	4,109	5,111
	<u>((717,284))</u>	<u>(216,455)</u>	<u>(922,267)</u>	<u>(641,889)</u>	<u>(427,994)</u>	<u>(420,925)</u>	<u>(523,570)</u>

参加証券に帰属する当期純利益 / 四半期純利益	4,584 (469,584)	3,056 (313,056)	3,006 (307,934)	3,735 (382,613)
普通株主に帰属する当期純利益 / 四半期純利益	1,682 (172,304)	1,122 (114,937)	1,103 (112,991)	1,376 (140,957)
普通株主に帰属する基本1株当たり当期純利益 / 四半期純利益 (米ドル (円))	0.14 (14.34)	0.09 (9.21)	0.09 (9.21)	0.12 (12.29)
普通株主に帰属する仮定基本1株当たり当期純利益 / 四半期純利益 (米ドル (円)) <sup>(4)</sup>		0.16 (16.39)		0.20 (20.48)

貸借対照表データ:	12月31日現在					2013年9月
	2008年 (未監査)	2009年 (未監査)	2010年 (未監査)	2011年	2012年	30日現在 (未監査)
	(単位: 従業員数を除き、千米ドル (千円))					
現金および現金同等物ならびに投資	8,213 (841,339)	15,117 (1,548,585)	19,591 (2,006,902)	19,117 (1,958,345)	23,566 (2,414,101)	21,719 (2,224,894)
運転資本	10,560 (1,081,766)	10,608 (1,086,683)	15,707 (1,609,025)	15,477 (1,585,463)	25,990 (2,662,415)	21,636 (2,216,391)
資産合計	16,424 (1,682,474)	23,638 (2,421,476)	34,809 (3,565,833)	41,495 (4,250,747)	47,024 (4,817,138)	52,483 (5,376,358)
関連当事者との提携からの短期および長期繰延収益	6,679 (684,196)	2,715 (278,124)	2,557 (261,939)	2,000 (204,880)	2,570 (263,270)	- (-)
関連当事者に対する条件付転換債務 (1年以内満期を含む。)	12,311 (1,261,138)	12,197 (1,249,460)	12,253 (1,255,197)	12,000 (1,229,280)	12,000 (1,229,280)	12,000 (1,229,280)
転換優先株式	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)	28,209 (2,889,729)
累積欠損	(33,998) (3,482,755)	(27,206) (2,786,982)	(18,203) (1,864,715)	(11,937) (1,222,826)	(7,759) (794,831)	(2,648) (271,261)
株主資本合計	(3,977) (407,403)	4,209 (431,169)	14,101 (1,444,506)	20,840 (2,134,849)	25,607 (2,623,181)	31,840 (3,261,689)
従業員数 (人)	23	29	51	76	79	86

キャッシュ・フロー計算書データ:	9月30日に終了した9か月間					2012年	2013年
	2008年 (未監査)	2009年 (未監査)	2010年 (未監査)	2011年	2012年	(未監査)	(未監査)
	(単位: 千米ドル (千円))						
営業活動によるキャッシュフロー (純額)	(5,441) (557,376)	7,500 (768,300)	5,905 (604,908)	437 (44,766)	11,246 (1,152,040)	9,984 (1,022,760)	1,018 (104,283)
投資活動によるキャッシュフロー (純額)	10,710 (1,097,132)	(3,649) (373,803)	(4,012) (410,989)	(4,093) (419,286)	(3,743) (383,432)	(5,568) (570,385)	(10,912) (1,117,825)
財務活動によるキャッシュフロー (純額)	(87) (8,912)	(5) (512)	45 (4,609)	(581) (59,517)	(624) (63,922)	(409) (41,897)	(2,173) (222,602)
現金および現金同等物	8,213 (841,339)	12,059 (1,235,323)	13,997 (1,433,852)	9,760 (999,814)	16,639 (1,704,499)	13,767 (1,410,291)	4,572 (468,355)

(1)2011年および2012年の財務データは該当する事業年度の当社監査済財務書類からの抜粋です。当該財務書類は、米国SECに提出されたForm S-1および本書の「第6 経理の状況」に含まれており、アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーにより監査済みです。

(2)2012年および2013年9月30日に終了した9か月間および2013年9月30日現在の財務データは、未監査の財務書類からの抜粋です。

(3)2008年、2009年および2010年の財務情報は、未監査です。

(4)この金額は、本株式公開の払込時に有効となる現在発行済みの優先株および転換債務の発行済み持分のすべての当社普通株式への転換を、当該転換が表示期間の期首に行われたものとして実施することにより得られるものです。希薄化1株当たりデータおよびその計算に関するより詳細な情報は、財務書類の注記1および2をご参照ください。

## 2【沿革】

2002年4月25日 - Acugen Neuropeutics Inc. を、変性眼疾患の治療法および医薬品のスクリーニング・システムの開発を目的として、ワシントン州法に基づき米国ワシントン州シアトル市に設立

2003年3月 - 社名をAcucela Inc. に変更

2003年7月 - ワシントン大学との間に独占ライセンス契約を締結し、オキュスクリーン (Ocuscreen) 事業 (医薬品候補の検査またはスクリーニングに関するサービス) を開始

2005年6月 - ワシントン大学との間で、網膜変性疾患の治療のための11シスレチニルアミン (11-cis-retinylamine) に関する独占ライセンス契約を締結

2005年10月 - 視覚サイクルモジュレーター (以下「VCM」といいます。) の探索を開始

2006年3月 - 本社および研究所を含むすべての部署が米国ワシントン州ボセル市に移転

2006年4月 - エミクススタト塩酸塩 (以下「エミクススタト」といいます。) (加齢黄斑変性 (以下「AMD」といいます。) 治療のために現在開発中のVCMに基づく主要な製品候補) の開発を開始

2006年8月 - 東京都品川区に東京オフィスを開設

2007年1月 - ワシントン大学から導入したビタミンA誘導体を基礎とする化合物の臨床試験の開始

2007年7月 - エミクススタトの新薬臨床試験開始申請 (以下「IND」といいます。) に向けた前臨床試験の開始

2008年4月 - エミクススタトのINDを米国食品医薬品局 (以下「FDA」といいます。) に提出

2008年5月 - エミクススタトのフェーズ1a臨床試験の開始

2008年9月 - 大塚製薬株式会社 (以下「大塚製薬」といいます。) との間で、ドライ型AMDの治療のための当社の主要な化合物 (エミクススタト) の共同開発および商業化契約ならびにドライアイ治療のための大塚製薬の化合物 (レバミピド) の共同開発契約の2つの契約を締結

2009年6月 - エミクススタトのフェーズ1a臨床試験の終了

2009年7月 - エミクススタトのフェーズ1b臨床試験の開始

2009年12月 - ドライアイ患者に対するレバミピドのフェーズ2臨床試験RED-203の開始

2010年1月 - ドライ型AMD患者に対するエミクススタトのフェーズ2a臨床試験「Envision (Evaluating a Novel Vision treatment for AMD) Clarity Trial」の開始

2010年2月 - ドライアイ患者に対するレバミピドのフェーズ2臨床試験RED-204の開始

2010年3月 - FDAがエミクススタトをファスト・トラックに指定

2010年6月 - ワシントン大学との間の11シスレチニルアミンに関する独占ライセンス契約を終了

2010年8月 - エミクススタットのフェーズ1b臨床試験の終了

2010年9月 - ワシントン大学との間のオキユスクリーン事業に関する独占ライセンス契約を終了

2010年9月 - 事務部門および臨床開発部門を含む本社をワシントン州シアトル市に移転

2010年9月 - 大塚製薬との間で、緑内障治療のための大塚製薬による化合物 (OPA-6566) に関し、共同開発契約を締結

2010年10月 - ドライアイ患者に対するレバミピドのフェーズ2臨床試験RED-203の終了

2011年2月 - ドライアイ患者に対するレバミピドのフェーズ2臨床試験RED-204の終了

2011年6月 - OPA-6566のINDをFDAに提出

2011年8月 - 緑内障患者に対するOPA-6566のフェーズ1/2臨床試験の開始

2012年5月 - ReVision Therapeutics, Inc. からフェンレティナイドに関する特許権を取得

2012年6月 - エミクススタットに対し、米国一般名 (USAN name) EMIXUSTATを取得

2012年6月 - エミクススタットに対し、米国一般名 (USAN name) EMIXUSTAT HYDROCHLORIDEを取得

2012年7月 - ドライアイ症候群患者に対するレバミピドのフェーズ3臨床試験の開始

2013年1月 - 緑内障患者に対するOPA-6566のフェーズ1/2臨床試験の終了

2013年2月 - 地図状萎縮を伴うドライ型AMDの患者に対するエミクススタットのフェーズ2b/3臨床試験の開始

2013年8月 - エミクススタットのフェーズ2b/3臨床試験の被験者登録数が50%に到達

2013年8月 - ドライアイ症候群患者に対するレバミピドのフェーズ3臨床試験の終了

2013年9月 - 東京都渋谷区に東京オフィスを移転

2013年9月 - 大塚製薬との間のレバミピドの共同開発に関する契約を解除

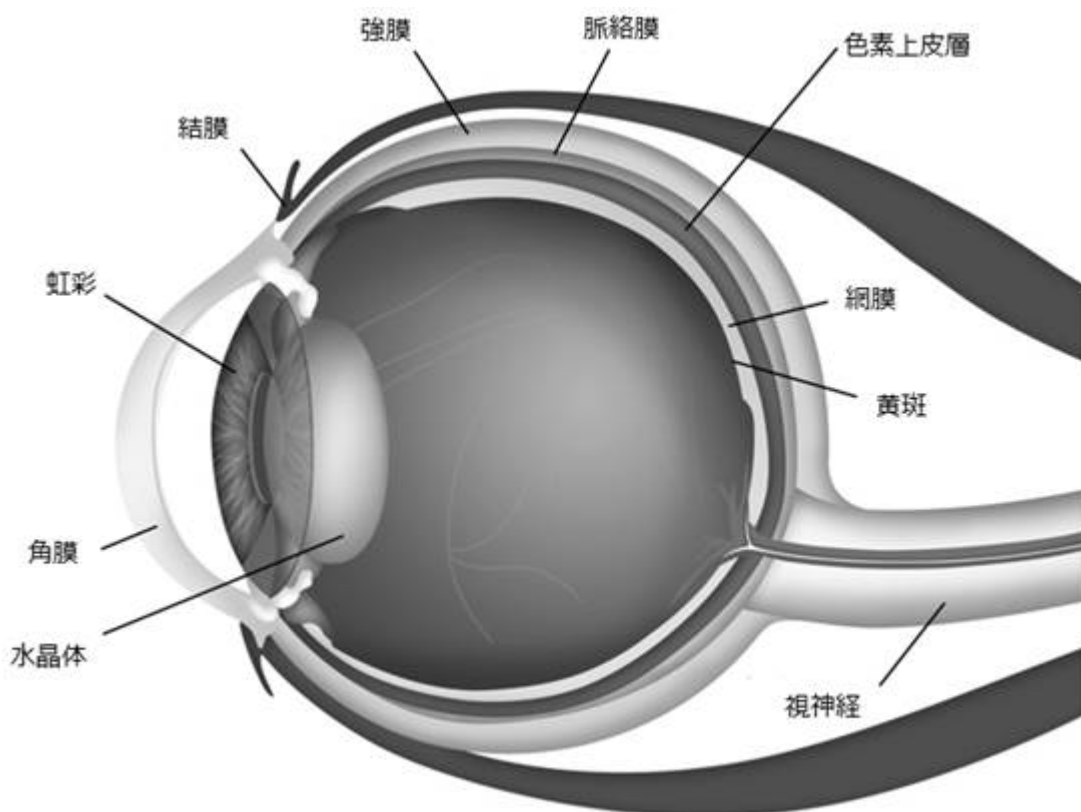
### 3【事業の内容】

#### 概要

当社は、世界中で数百万人の人々の視力を脅かしている眼疾患を治療し、またはその進行を遅らせるための新しい治療薬の探索および開発を専門とする、臨床段階のバイオテクノロジー企業です。当社は、自社で開発した視覚サイクルモジュレーター（以下「VCM」といいます。）の経口製剤の開発に注力しており、加齢黄斑変性（以下「AMD」といいます。）、糖尿病性網膜症、糖尿病性黄斑浮腫、スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症など、様々な網膜疾患に対する治療薬の開発に取り組んでいます。当社のVCM化合物は、網膜に蓄積する毒性副産物を減少させ、酸化ストレスによる損傷を軽減し、また、光による損傷から網膜を保護することにより、これら網膜疾患の根本原因に対処するものと期待されています。視覚サイクルとは、網膜内において光量子（フォトン）が電気信号へと生物学的に変換され続けるために必要な仕組みをいいます。当社では、この視覚サイクルの速度を抑制し調節する仕組みを利用することで、眼疾患の治療および進行の抑制に役立てる化合物を開発しています。視覚サイクルモジュレーターに関する当社の洞察と、眼科領域の研究開発に関する当社の深い専門知識により、もし承認されれば、視力を保護し複数の眼疾患の進行的影響に悩まされる世界中の患者を救済する製品の開発が可能になると当社は確信しております。

当社は自社で創薬したVCM化合物の開発に注力すると同時に、緑内障の治療薬の開発初期段階にあります。眼科領域は大規模で将来の成長が見込まれる市場であり、また既存の治療法では不十分な領域でもあるため、当社の主要製品候補にとって十分な市場性が期待できると確信しております。独立の調査会社であるvisiongain社によれば、世界の眼科市場は2011年には175億米ドル規模であり、2023年までに347億米ドル規模に成長する（年複利成長率は5.9%）と見込まれています。当社の2つの主要製品候補は、2011年の市場価格ベースで、全体の売上の過半に相当する適応疾患をターゲットとしています。

以下の図は、本書において言及される眼の主要な部分を示しています。



当社のビジネスモデルは、大規模かつ未開拓の眼科領域において当社の成長を促すべく、以下の3つの方針に基づいています。

- ・ **優れた画期的技術**：現在フェーズ2b/3臨床試験中のリード化合物およびその他開発中の複数のVCM化合物による、VCMのフランチャイズ化の機会。
- ・ **盤石な研究開発体制**：眼科領域における研究および臨床開発の実績・能力。
- ・ **長期的視野に基づく提携**：日本を拠点とする世界的製薬会社である大塚製薬株式会社（以下「大塚製薬」といいます。）とプログラムで提携。

2008年より、当社は、革新的な治療薬を重篤な眼疾患に苦しむ患者に提供すべく、大塚製薬と共同でその開発および商業化に向けて密接に取り組んでまいりました。2008年9月、当社は大塚製薬との間で、当社のVCMリード化合物であるエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」といいます。）ならびにそのバックアップ化合物をドライ型AMDおよびその他の眼科適応症を対象に共同開発および商業化する契約を締結しました。また、2010年9月、当社は大塚製薬との間で、大塚製薬が創薬した緑内障治療のためのアデノシンA2a受容体アゴニストであるOPA-6566について共同開発および共同販売に関する契約を締結することにより、当社のポートフォリオをさらに拡充しました。さらに当社は、2008年から2013年まで、大塚製薬が創薬したドライアイ治療薬レバミピド点眼液（レバミピド）を米国において共同開発する契約に基づき（当該契約は最近解除されました。）、大塚製薬に対し開発サービスを提供しました。

当社は現在米国において、以下の2つの製品候補の臨床開発を行っています。

- ・ 経口療法として現在フェーズ2b/3段階にある、AMD治療のためのエミクススタト
- ・ 米国においてフェーズ1/2段階にある、緑内障治療のためのOPA-6566

以下の表は、当社の製品候補ならびにそれらの適応症、開発段階、関連特許満了日および地理的権利を示しています。

医薬品	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	オリジネーター <sup>(1)</sup>	当社のテリトリー	知的財産権満了日
VCM エミクススタト塩酸塩	AMD				Acucela	北米(共同)、EU、南米およびアフリカ	2029年11月(延長する場合があります。) <sup>(2)</sup>
	DR/DME	糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫					
		スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症					
その他のVCMおよび網膜製品候補		スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症			Acucela	全世界	
OPA-6566	緑内障				大塚製薬	米国(共同) <sup>(3)</sup>	2025年4月 <sup>(4)</sup>

(1) 化合物保有者のことをいいます。

(2) ハッチ・ワックスマン法による特許期間の延長および特許使用の追加の場合を除きます。

(3) フェーズ2およびフェーズ3臨床試験の完了時に共同開発および共同販売を選択する権利があります。

(4) OPA-6566の特許期間は、そのオリジネーターである大塚製薬により最大で5年間延長できる可能性があります。



## VCM

VCMは、当社創業者が見出し開発に着手した新規メカニズムであり、その科学コミュニティにおける先駆的な努力のみならず、当社による臨床試験の結果および特許ポートフォリオの構築により、当社が主導的地位を確立し、これを維持している分野です。視覚サイクルとは、網膜内で光量子（フォトン）が電気信号へと生物学的に変換される仕組みのことをいいます。視覚サイクルは、強い光にさらされると非常に活発化し、排除することのできない有害副産物を生産します。これらの有害副産物の蓄積は、時間の経過とともに視覚サイクルの機能を低下させ、結果的に網膜を損傷します。VCMは、有害副産物を減少させ、酸化ストレスによるダメージを軽減し、また光による損傷から網膜を保護する作用を有しています。

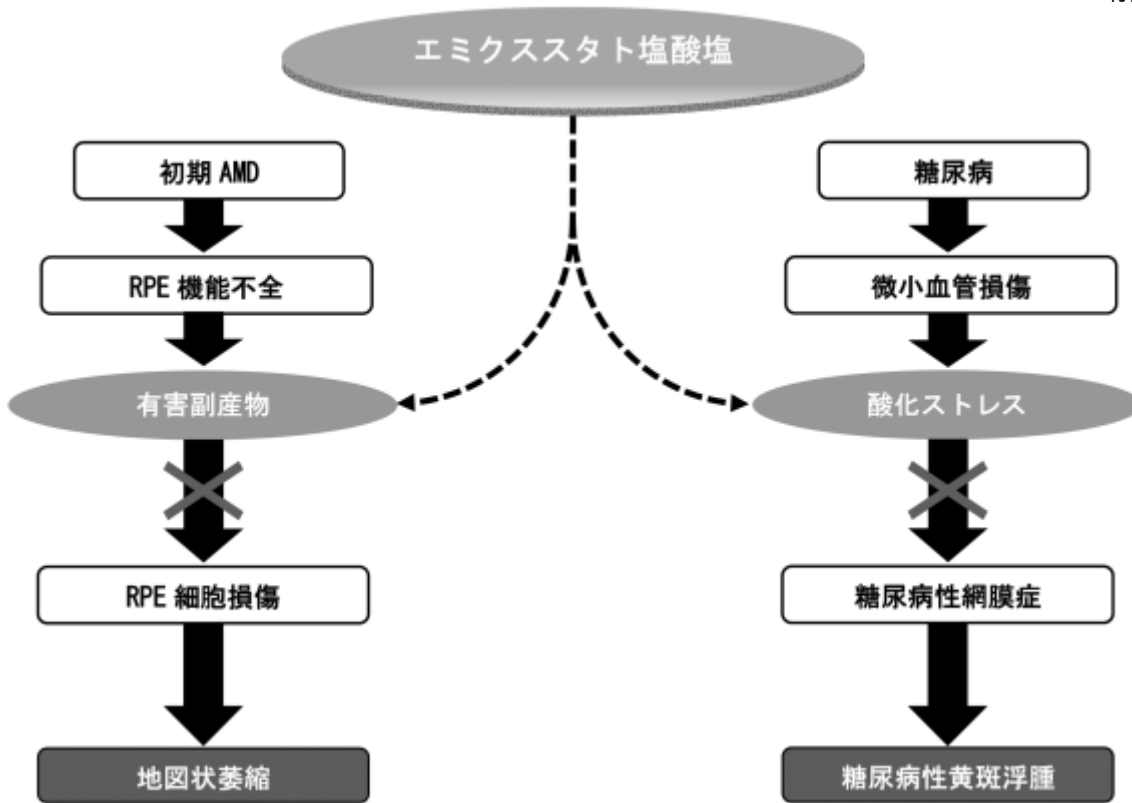
当社のVCM化合物は、種々の網膜疾患を初期段階において治療できる可能性のある薬剤候補であり、網膜内の細胞に選択的に作用することで疾患の進行を遅らせる効果が期待されています。過去に実施された初期臨床試験において、その視覚サイクルに対する変換作用、および全身性の高い安全性プロファイルが実証されています。経口による投与が可能その利便性および簡便さに鑑み、当薬剤の幅広い適用についての潜在性があるものと考えられます。現時点において、網膜疾患の治療薬としてFDAから承認されている経口薬はなく、また眼球後部に十分な濃度の薬物を届けることが技術的に困難なことから、経口剤として開発されている薬剤もほとんどありません。当社は、エミクススタトおよびその他VCM化合物に対し強固な特許ポートフォリオを構築しており、今後も当社の知的財産を積極的に追求および防御していく意向です。

## エミクススタト

エミクススタトは、AMD治療のために現在開発中の、当社のリードVCM化合物です。AMDは、患者の中心視力の低下を引き起こす網膜の疾患であり、重篤なケースでは中心視力の顕著な不可逆的喪失を招きます。現在、ドライ型AMDの治療法として米国食品医薬品局（以下「FDA」といいます。）に承認されたものはなく、当社は、エミクススタトがドライ型AMDに対する最初の治療薬として商業化される可能性があると考えています。

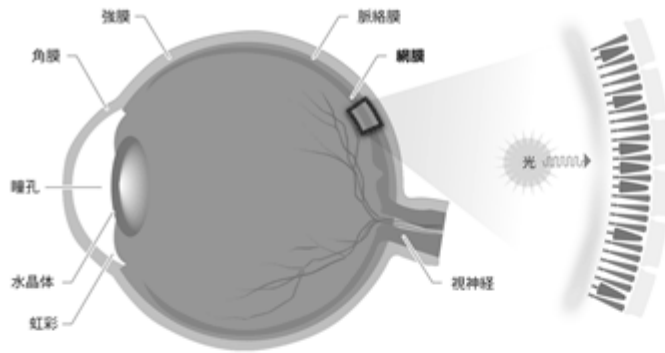
- 2010年3月、市場における代替可能な治療法の欠如および慢性的かつ進行性という当該疾患の性質に基づき、FDAは、ドライ型AMD（地図状萎縮）の治療のためのエミクススタトの審査を「ファスト・トラック」に指定しました。地図状萎縮は、ドライ型AMDの最も進行した段階であり法的盲（注：矯正視力20/200 [0.1] 未満をいう。）を引き起こす場合があります。
- エミクススタトはフェーズ1およびフェーズ2a臨床試験において合計179名の被験者に投与され、経口投与を通じた全身性有害事象はほとんど認められませんでした。また、直近のフェーズ2a概念実証試験では、地図状萎縮を伴うドライ型AMD患者の視覚サイクル調節に対するエミクススタトの用量依存的効果が、エレクトロレチノグラムの測定により実証されました。
- 2013年第1四半期に、当社は、地図状萎縮を伴うドライ型AMD患者に対するエミクススタト3用量の安全性および有効性を評価するため、約440名の患者を対象とした、無作為、二重盲検、投与量決定試験であるフェーズ2b/3臨床試験を開始しました。
- 当社は、エミクススタトの開発および商業化を加速すべく、現在北米において大塚製薬と提携しており、またヨーロッパ、南米を含む大規模な市場が見込まれる地域においては独占的開発および商業化の権利を保持しています。

以下の図は、AMDおよび糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫の疾患進行過程におけるエミクススタトの作用機序を示したものです。ドライ型AMD患者においては、エミクススタトが視覚サイクル中の有害副産物の蓄積による副作用を減少することが期待されます。有害副産物はドライ型AMDの進行に関係することから、これらの副産物の発生を減少させることにより、疾患の進行は遅らせられると考えられます。また、糖尿病患者においては、エミクススタトの投与により網膜における酸素レベルを上昇させることで、糖尿病性網膜症に関連する損傷を減少し、糖尿病性網膜症の糖尿病性黄斑浮腫への進行を潜在的に遅らせることが期待されます。

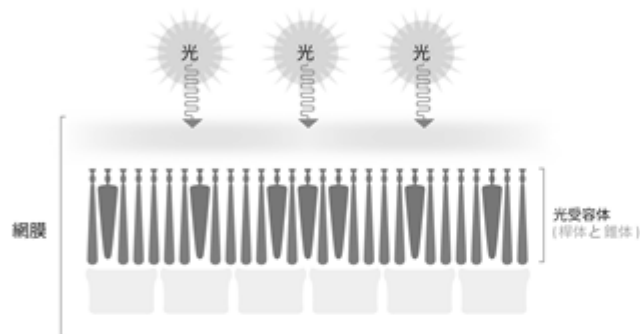


次の図は、視覚サイクルが典型的にどのように機能するか、およびAMDの進行を抑えるため、エミクススタトが視覚サイクルをどのように遅らせる（モジュレートする）かについて示したものです。

## 視覚サイクル

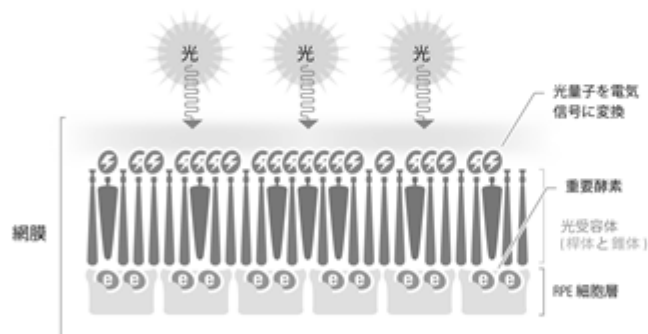


網膜を模式的に拡大したヒトの眼球。



1

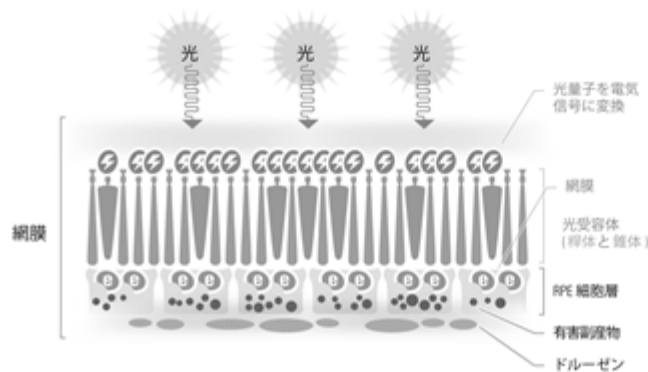
ヒトの眼球内で光は網膜に到達し、網膜上の光受容体と相互に作用します。



2

光受容体の視物質のはたらきにより光量子が電気信号に変換され、視覚情報として脳へと伝達されます。

網膜色素上皮細胞 (RPE: 眼球後部にある色素細胞の層) に含まれる重要酵素により、光受容体に視物質が補給されます。このプロセスを視覚サイクルと呼びます。

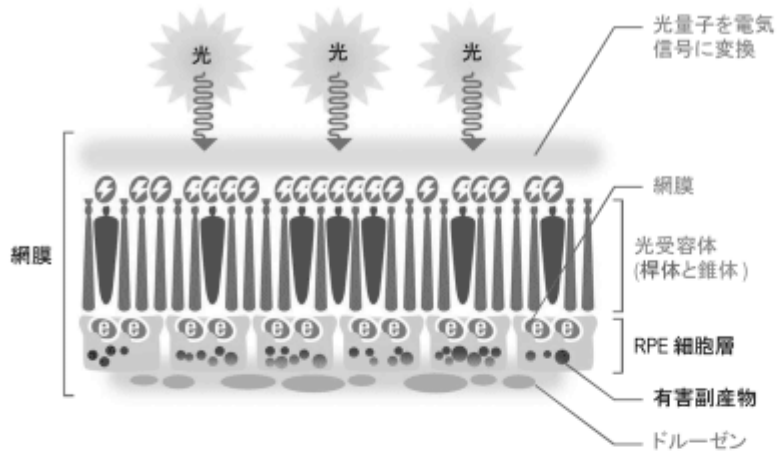


3

RPE細胞は、その成長に伴い、光受容体の先端を (一定の速度で) 侵食し続け、同時に視覚サイクルの有害副産物が蓄積されていきます。

この有害副産物の蓄積が、AMDの発症に関係しています。細胞外でのドルーゼンの蓄積は、AMDの臨床徴候の1つです。

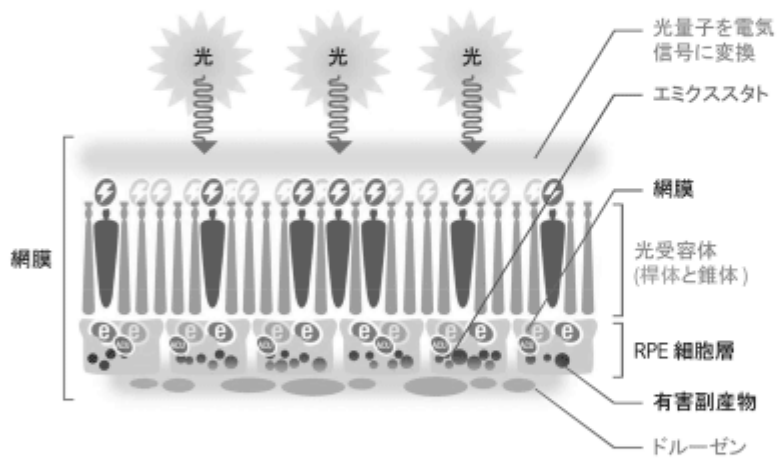
## 視覚サイクルモジュレーター



1

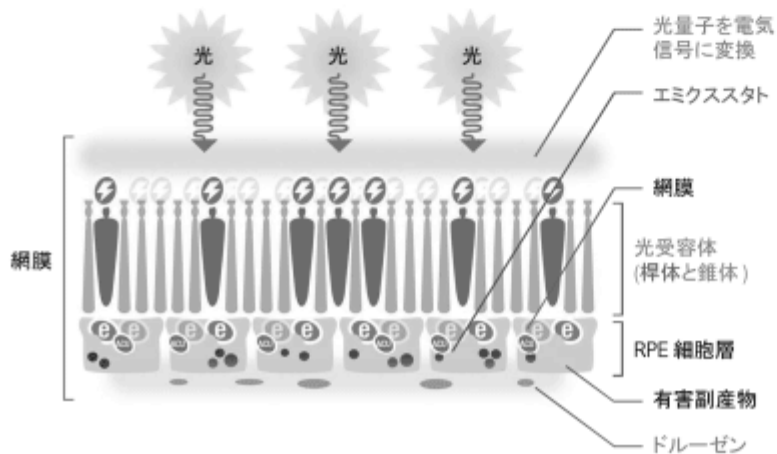
RPE細胞は、その成長に伴い、光受容体の先端を(一定の速度で)侵食し続け、同時に視覚サイクルの有害副産物が蓄積されていきます。

この有害副産物の蓄積が、AMDの発症に関係しています。



2

Acucela のリード化合物エミクススタが視覚系に適用されると(桿体細胞のみを標的とし、錐体細胞には作用しない)視覚サイクルにおける重要酵素の生成が抑制されます。



3

エミクススタが酵素の生成を抑制することにより、桿体細胞の活動も抑制されると同時にRPE細胞での有害副産物の蓄積も緩徐になります。

視覚サイクルを遅らせる(モジュレートすることにより、蓄積される有害副産物が減少し、AMDの進行が遅くなります。

## VCMの特徴

VCMを基礎とする治療法は、他の治療と比較して以下の様な大きな利点を有するものと当社は確信しています。

- ・ **複数の網膜疾患の根本的原因に対応** 当社の臨床前研究により、視覚サイクルの抑制が、網膜を光による損傷から保護し、網膜の血管系を改善し、網膜細胞にとり有害な副産物の蓄積を減少させるため、複数の網膜変性疾患の根本的原因に対応できることが示されました。当社は、これらの臨床前研究の結果から、当社のVCMを基礎とする治療法が、視力を脅かす幅広い分類の眼科的疾患に対し適用可能な薬理的効果を示すものであると確信しています。
- ・ **早期介入** 当社のVCMを基礎とする治療法は、複数の網膜変性疾患に対しその根本的な作用機序および疾患原因に対応することから、疾患後期の治療や併用療法のみならず、初期段階の治療においても大きな役割を果たす可能性があると考えます。当社のVCM化合物は、既存のウェット型AMDや糖尿病性黄斑浮腫のための硝子体内注射による抗血管内皮増殖因子 (抗VEGF) 製剤とは異なり、経口による投与が可能のため、疾患の早期段階の治療において失明につながりうる細胞死を遅らせる理想的な薬剤候補です。このことから、当社のVCM化合物が、AMDのように初期段階における診断が比較的容易な疾患の予後に多大な貢献を果たすことが期待されます。
- ・ **広範な適用** 当社のVCMを基礎とする治療法は、当社が対象とする疾患について現在臨床研究が行われている他社の薬物候補とは異なり、複数の網膜疾患の根本的な病態に対応するものです。このような根本的治療に対するアプローチにより、当社製品が将来的に、AMD、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫、スターガート病、網膜色素変性症および未熟児網膜症を含む様々な視力を脅かす眼疾患治療への応用に役立てることができそうです。
- ・ **経口錠剤投与** エミクススタトを含む当社のVCM化合物は、経口による投与が可能であり、両眼治療においては、特に患者および医師の治療の負担を軽減し、外科手術および眼への直接注射に対する簡便な代替手段を提供します。これに加え、当社の経口錠剤は様々な環境条件下での保存が可能であることから、流通の面でも世界的に費用効率的な供給が可能となります。
- ・ **優れた安全性プロファイル** 当社のVCMを基礎とする治療法は、非レチノイド化合物であり、レチノイドにおいて一般的にみられるかゆみ、赤み、皮膚乾燥、じんましん、吐き気、腹痛および炎症などを含む深刻な全身性の副作用を回避することができます。エミクススタトは、眼にのみ存在する酵素であるRPE65の異性化活性に対する酵素阻害薬です。これまでに実施された非臨床および臨床試験の結果から、この局所的なターゲットアプローチにより、薬剤の効果を疾患部位に選択的に作用させることで、全身性の副作用を回避できることが示唆されています。なお、過去の臨床結果から、エミクススタトについて臨床的に懸念されるような全身性の副作用は確認されておらず、その好ましい安全性プロファイルが実証されていますが、眼に対する局所の副作用はいくつか確認されています。ただし、これら眼部にみられる有害事象はすべて軽度または中等度で予測およびモニターが可能でかつ可逆性です。最も頻繁にみられた副作用は、色彩の変化、視覚のぼけ、視力障害および強い光から弱い光への順応の遅れです。

## その他のVCM化合物

これらの製品候補に加え、当社は、自社が保有するVCMに関する特許を最大限に活かし、エミクススタトならびにその他VCM化合物を、スターガート病、網膜色素変性症および未熟児網膜症など、希少な網膜疾患の治療薬候補として開発を進める計画です。

## OPA-6566

OPA-6566は、オリジネーターである大塚製薬から付与されたライセンスおよび同社との提携に基づき共同開発中の製品候補であり、高眼圧症および緑内障の治療のための点眼液です。緑内障は、進行性かつ慢性の疾患であり、適切に治療されなければ視覚機能の低下および失明を招く可能性があります。現在複数の治療法が確立されていますが、どの薬剤も結膜の充血や不整脈など、なんらかの眼局所または全身性の副作用を伴います。独立の調査会社であるFrost & Sullivan社によれば、緑内障患者の約半数は1種類の治療法では目標の眼圧を達成することができず、その多くは2種類ないし3種類の治療薬あるいは外科手術により疾患の進行を抑制していると報告されています。OPA-6566は、眼内の房水流出を自然に促すことにより眼圧を下降させる新しい作用機序を有していることから、既にFDAから承認済の他の治療法と差別化が可能な期待の高い薬剤候補であると当社は確信しておりますが、開発を進めるにはオリジネーターである大塚製薬の同意が必要となります。当社は、大塚製薬と提携して、開放隅角緑内障または高眼圧症患者を対象とするOPA-6566のフェーズ1/2臨床試験を米国で実施しました。臨床試験の次フェーズに向けた支援材料としてさらなる臨床前評価を実施中であり、この結果に基づき今後のOPA-6566の開発計画を決定する予定です。

完了したフェーズ1/2試験の結果は、プラセボと同等の割合およびlatanoprostよりも低い割合で、OPA-6566の全体的な有害事象および眼の有害事象が報告されました。眼の充血は、この研究において最も広く報告された有害事象であり、OPA-6566による治療群の被験者の8%から21%、プラセボ群の被験者の9%、およびlatanoprost群の被験者の53%に見られました。当該研究において、深刻な有害事象は報告されませんでした。また、有効性評価である眼圧低下作用では、ほとんどの比較において、OPA-6566とプラセボに差を認めることができませんでした。

## 戦略

当社の目的は、視力を脅かす眼疾患に対する新たな治療薬を創薬、開発または導入し、商業化することです。当社戦略の主要要素は以下の通りです。

- **当社の製品候補の開発および商業化を追求** 当社は、柔軟かつ効率的なビジネス・モデルを採用することで、継続的に当社の製品候補の開発に努めていく意向です。今後、当社の製品候補が承認された場合には、独自の販売およびマーケティング組織の構築、あるいは戦略パートナーとの提携により、その販売活動を世界的に展開していく計画です。
- **VCMの役割を市場に周知** 当社の革新的なVCMに基づく製品候補は、様々な網膜変性疾患の根本的な病態に対応する画期的なアプローチであると確信しています。当社は、知的財産ポートフォリオの拡大、ならびに開発中の製品候補の承認の成功および承認後の当社製品の商業的販売を通じて、VCMに基づく治療法の利点を眼科系コミュニティーに周知していく所存です。当社はまた、VCMのメカニズムならびに様々な眼疾患に対するその潜在的な役割に関して積極的に啓蒙活動を行うことで、VCM分野における当社の主導的地位を継続して維持し、強化していく所存です。
- **社内研究および新規パートナーシップを通じて眼科製品パイプラインの拡大を継続** 当社は起業以来眼科領域に注力してきており、同分野において豊富な専門性を有する研究開発チームを構築しています。当社はその製品パイプラインを拡大するため、継続して社内創薬および開発努力に投資していく意向です。また当社はその眼科研究開発における専門性を活かし、新薬候補のライセンス権の導入あるいは買収により、積極的に製品パイプラインの拡大に取り組んでいます。
- **当社インフラの拡張を継続** 当社はその中核となる人材の能力をさらに強化・拡張し、VCMならびに眼科領域において主導的地位を維持し成長し続けられるよう、さらなる経営陣およびその他の主要人員の採用・強化に努めていく予定です。
- **大塚製薬との提携を通じ当社の製品候補を成功裏に開発** 当社は、大塚製薬との提携により開発している製品候補についての臨床開発および米国における薬事戦略を主導しています。当社は同関係を継続していくことで、資金的な安定を維持しつつ、需要が満たされていない大規模な市場を最大化していく意向です。

## 市場概況

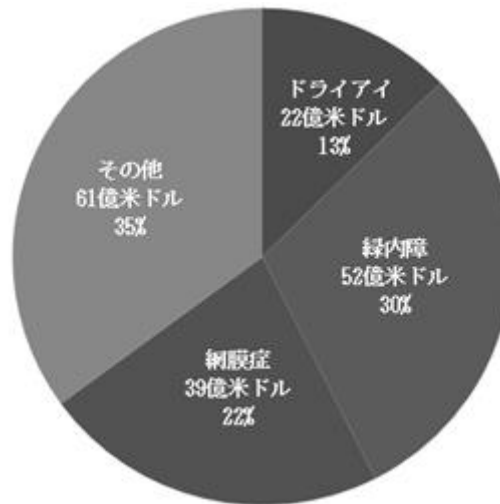
眼科市場は以下の3つの主たる治療セグメントに分かれています。

- ・ 眼科医薬品
- ・ 視力ケア製品 (眼鏡、コンタクトレンズ液等)
- ・ 外科的 / 眼科機器

当社が手がける眼科医薬品セグメントは、眼科市場内の大規模かつ成長中のセグメントです。独立系調査会社であるvisiongain社によれば、世界的な眼科医薬品市場は2011年の175億米ドルから2023年には347億米ドルへ拡大すると見込まれており、当該期間における年複利成長率5.9%を示しています。米国眼科医薬品市場は世界最大であり、2011年の67億米ドルから2023年の127億米ドルへと類似の成長が見込まれており、年複利成長率5.5%を示しています。このような成長の背景として、高齢者数の増加およびこれに基づく眼疾患の発生増加による市場の新しい眼科製品に対する需要が刺激されることが考えられます。

下図は、当社の製品候補の適応症毎のvisiongain社による世界的眼科医薬品市場の推定値を示したものです。当社が開発中のAMDおよび緑内障は、世界における視覚障害および失明疾患のうち、その罹患率の多さおよび非侵襲性の高い治療またはより効果的な治療法に対する需要の高さから、薬剤による治療効果をもっとも期待されている市場です。

### 2011年における世界的処方医薬品市場



## 製品概要

### 概観

当社の医薬品開発プログラムは、既存の治療法では十分に対応されていない、視力を脅かす眼疾患を対象としており、大きな商業化機会が存在すると考えられます。

### AMD治療のためのエミクススタト

**疾患の概要** AMD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重大かつ不可逆的な中心視力の喪失を生じさせる網膜疾患です。同疾患にはドライ型AMDおよびウェット型AMDの二つの種類があります。同疾患により、明瞭に物を見るためおよび読書や運転等の日常的な活動を行うために必要とされる細かい中心視力が、加齢に伴い破壊されます。特に、進行期のAMDである地図状萎縮およびウェット型AMDは、米国においては50歳以上の者に視力喪失および失明を生じさせる主要原因となっています。

**罹患率** ドライ型AMDは最も一般的なAMDの種類であり、罹患数の約90%を占めます。AMD患者の約15%は、典型的に地図状萎縮を伴うような中期または進行期ドライ型AMDまで進行します。進行期のドライ型またはウェット型AMDにまで至るリスクは、加齢とともに上昇します。ウェット型AMDは、進行期の、しかしより頻度の低いAMDの種類であり、罹患数の約10%を占めます。独立系調査会社であるMarketScope社によれば、米国および世界におけるAMD罹患患者数は、2012年においてはそれぞれ1,100万人および1億2,700万人であり、同数値は2017年においてはそれぞれ1,300万人および1億4,600万人になると見込まれています。

AMDの各種類の追加的情報は以下の通りです。

・ **ドライ型AMD**

**概要** ドライ型AMDは、ドルーゼンとして知られる網膜下の黄色脂質の蓄積物の存在により特徴付けられ、ドルーゼンの存在は視力を脅かす将来的な障害の前駆症状である可能性があります。ドライ型AMDの主要な特徴は、黄斑とよばれる網膜の敏感な部分の層における網膜色素上皮 (以下「RPE」といいます。) の減少です。RPE細胞は、視覚サイクルに関連する分子の再生および視覚において不可欠な役割を果たす光受容細胞の生存性の支援において重要な役割を果たしています。色素癒着および地図状萎縮 (黄斑における深刻な損傷) 等のRPEの障害は、視覚機能を害し、地図状萎縮の場合においては、萎縮部分が進行し、黄斑の中心に位置する中心窩という眼の部分を侵襲するにつれ、失明につながる可能性があります。

**原因** ドライ型AMDはRPE細胞の死亡および光受容細胞の変性に関連し、視覚の喪失を引き起こします。近年、RPE内に蓄積する網膜リポフスチン (加齢色素) と、これらの細胞死との関連を裏付ける根拠が多数報告されています。網膜リポフスチンの主要構成要素はピリジニウムビスレチノイドであり、これは視覚サイクルにおいてRPE内でオールトランスレチノールが11-シスレチノールへ異性化されることで発生する主な副産物です。この潜在的に有害な副産物の蓄積を回避することで、ドライ型AMDがウェット型AMDなどへと進行するのを回避するために早期治療が必要不可欠です。

**既存の治療法およびその限界** 一定の初期研究においてビタミン製剤、抗酸化剤および亜鉛などのサプリメントが疾患の初期段階において進行を遅らせる可能性が示唆されているものの、現在ドライ型AMDに対してFDAから承認済みの治療法はありません。当社はこの満たされていない大きな医療需要が、大きな商業化機会を示すものであると考えます。

・ **ウェット型AMDは急激に進行する疾患であり、急速、重大かつ恒久的に中心視力を悪化させる可能性があります。**

**概要** ウェット型AMDは、網膜内における新生血管の形成により特徴付けられ、同形成は黄斑における網膜組織の損傷、および眼の血管滲出 (出血) により突然かつ恒久的な視覚の損失につながる可能性があります。

**原因** ウェット型AMDは、網膜下組織における新生血管の形成により発生し、同形成には滲出により網膜細胞を損傷する傾向があり、恒久的な視覚の喪失につながる可能性があります。

**既存の治療法およびその限界** ウェット型AMDの治療については、現在5つのFDA承認済みの医薬品治療が存在します。これらの治療のうち4つについては眼に直接注射される必要があります。他の治療は光力学治療であり、感光色素を血中に注入し、それをレーザー光線により活性化させることで滲出を止める作用を有しています。当社は、ウェット型AMDの安全かつ簡便な承認治療または手法の開発については、大きな商業化機会が存在するものと考えています。

**製品候補** エミクススタトは、網膜細胞にとって有害であり、AMDおよびその他の網膜変性疾患に関連する網膜変性につながる副産物の生成および蓄積を減少する手段として、視覚サイクルの異性化プロセスを抑制するように設計されています。視覚サイクルの抑制は、このような有害副産物を減少させ、網膜に対する酸化ダメージを抑えることが確認されていることから、当社は視覚サイクルが、AMDおよびその他の網膜変性疾患の進行を遅らせまたは停止させる薬理的介入の有望な対象であると確信しています。



**開発状況** 当社のドライ型AMDに関する新薬臨床試験開始申請 (以下「IND」といいます。 ) は2008年5月にFDAに提出されました。2010年に、FDAは、利用可能な治療の欠如および慢性的衰弱性であるかかる疾患の性質に基づき、地図状萎縮を伴うドライ型AMDについてのファスト・トラック指定を付与しました。ファスト・トラック指定により、従来のFDA手続きと比較し、より迅速な開発プロセスと患者への普及が促進されるものと予想されます。地図状萎縮を伴うドライ型AMDを対象としたフェーズ2b/3臨床試験は、2013年第1四半期に開始されました。

現在までに入手可能なエミクススタットの臨床データは、良好な安全性プロファイルを示しています。エミクススタット臨床試験においていくつかの副作用が記録されてはいるものの、大半は眼に関するもので、主として色視症 ( 淡彩の変化 ) 、視力障害および夜盲症 ( 明るい場所から暗い場所への適応の遅延 ) の事象を含むものでした。これらの事象の大半は軽度から中等度かつ薬効によって説明できるものであり、薬剤投与の終了とともに解消されました。重篤な有害事象は3件報告されており、これらのうち2件は眼に関する局所的な作用であり、色視症と報告され可逆的でありました。残りの1件は全身性の有害事象で肺疾患の悪化と報告されましたが、治療薬との因果関係は否定されました。

エミクススタットは、5件の全フェーズ1臨床試験 ( 4件の2~75ミリグラムの範囲での単回投与試験および1件の14日間にわたる5~40ミリグラムの範囲での1日1回複数回投与試験 ) ならびにフェーズ2a概念実証試験 ( 90日間にわたる2~10ミリグラムの範囲での1日1回投与による投与量増加、多施設、無作為、二重盲検、プラセボ対照試験 ) において全身の有害事象は確認されませんでした。さらに、フェーズ2a臨床試験では、複数回投与による薬理効果を桿体光受容体のbウエーブ反応の回復の遅れに基づいて測定した結果、さまざまな時点において網膜に対する本薬剤の活性が立証されました。

以下の表は、エミクススタトに関しこれまでに実施された臨床試験の概要を示すものです。

### 完了したエミクススタト臨床試験の概要

試験識別子 試験タイプ	試験の目的	試験設計および 対照群	試験製品および 投与計画	被験者数	年齢 (平均および範囲)
フェーズ1：薬物動態、安全性、忍容性					
プロトコル No. 4429-0001 健康人ボランティア に対する単回投与の 安全性および忍容性	安全性、忍容性、 薬物動態および薬 力学的評価	単一施設、無作 為、二重盲検、 投与量増加、 プラセボ対照	6名の被験者による7つ のコホートに対するエミ クススタトまたはプラセ ボの単回経口投与。投与 量の増加は安全性データ が確認された後のみ認 められました。	エミクススタト：38名  プラセボ：8名	エミクススタト： 62歳 (55～74歳)  プラセボ： 60歳 (55～69歳)
プロトコル No. 8201-618 健康人ボランティア における食物影響お よび薬物動態	安全性および薬物 動態における食物 の影響の評価	非盲検、無作 為、相互的クロ スオーバー	10時間の絶食後または通 常の高脂肪朝食後に被験 者に25mgのエミクススタ トを経口投与	エミクススタト：12名 絶食後：12名 食後：12名	エミクススタト： 37歳 (29～48歳)
プロトコル No. 8201-619 シトクロムP450薬物 間相互作用	薬物対薬物の 相互作用の 潜在力の評価	非盲検、 並行群間	36名の被験者 (6つのグ ループ) に対する25mgま たは60mgのエミクススタ トのみまたはエミクス スタトおよび既知の阻害剤 もしくは基質の投与	エミクススタト25mg： 25名  エミクススタト60mg： 12名	エミクススタト： 35歳 (25～55歳)
プロトコル No. 8201-085 マスバランス	<sup>14</sup> C放射性標識化さ れたエミクススタ トの血液量および 血漿量の定量化	非盲検、マスバ ランス (light- labeled)	8名の男性被験者に対す る40mgの <sup>14</sup> Cエミクススタ トの単回経口投与	<sup>14</sup> Cエミクススタト40 mg：8名 (総人口に対する320mg のエクスポージャー) 約1600nCi	エミクススタト： 36歳 (27～53歳)
プロトコル No. 8211-725 健康人ボランティア に対する複数回投与 (14日間)	安全性、忍容性お よび複数回経口投 与による薬物動態	二重盲検、 投与量増加、 複数回投与	14日間、8名 (アクティ ブ6名、プラセボ2名) の被験者による5つの投 与量増加グループ (5、 10、20、30および40mg) に対する絶食後毎朝投与	エミクススタト：30名 5mg：6名 10mg：6名 20mg：6名 30mg：6名 40mg：6名 プラセボ：10名	エミクススタト： 39.8歳 (26～55歳)  プラセボ： 37.7歳 (27～50歳)
フェーズ2：有効性および安全性					
プロトコル No. 4429-201 フェーズ2a安全性お よび投与量決定試験	地図状萎縮被験者 に対する投与の安 全性および忍容性 の評価、エレクト ロレチノグラムを 用いた測定による エミクススタトの 薬力学的 (生物学的) 活動の評価	多施設、無作 為、二重盲検、 プラセボ対照、 複数回投与	3か月間毎日1回投与	エミクススタト：54名 2mg qAM：12名 5mg qAM：12名 5mg qAM：12名 7mg qAM：12名 10mg qAM：6名 プラセボ：18名	エミクススタト： 78.1歳 (55～95歳)  プラセボ： 78.4歳 (55～87歳)

これら臨床試験中に発生した有害事象は一般的に軽度から中等度であり、重篤な有害事象は3件のみでした。全身性の有害事象として慢性閉塞性肺疾患が観察されましたが、薬剤との因果関係は否定されました。その他の2件は色視症を含む眼に関する局所的有害事象でした。

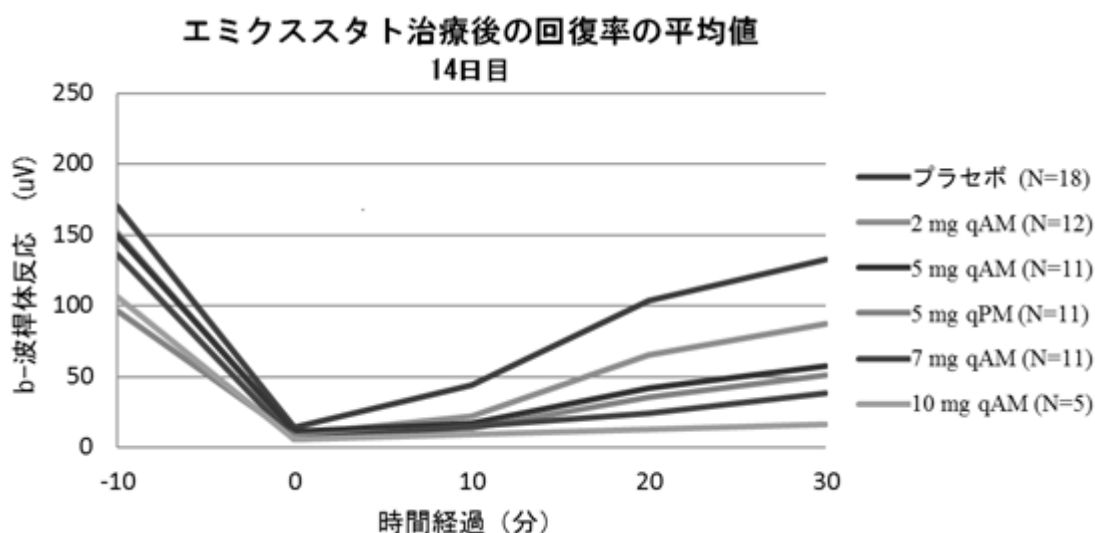
## フェーズ2a概念実証投与量増加試験

2012年10月に、当社は、エミクススタトに対するフェーズ2a概念実証試験を完了しました。かかる試験は、約60名の地図状萎縮を伴うドライ型AMDの被験者を対象に、エミクススタトの安全性、忍容性、薬物動態および薬力学を評価することを目的とした多施設、無作為、二重盲検、プラセボ対照、投与量増加試験でした。当該臨床試験は、合計72名の地図状萎縮患者により行われました。

かかる試験の主要目的は以下のとおりです。

- ・ 視覚サイクル活動を測定する生物学的指標 (バイオマーカー) であるエレクトロレチノグラムを通して概念実証を行います。
- ・ 1日1回、3か月間にわたる経口投与によるエミクススタトの異なる投与量における安全性および忍容性を評価します。

当社は、視覚サイクルを調節または減速することにより、視力を脅かす眼疾患の進行を遅らせることができるという仮説に基づき、エミクススタトが網膜において視覚サイクルを減速させる能力を検証しました。その結果、複数回投与による薬理効果を桿体光受容体のbウエーブ反応の回復の遅れに基づいて測定したエレクトロレチノグラムの結果、さまざまな時点において網膜に対する本薬剤の活性が立証されました。下図に示されるとおり、回復率において用量依存的な効果が認められ、最高用量において最も高い視覚サイクルの調節機能が確認されました。



当該臨床試験の結果から、地図状萎縮を伴うドライ型AMD患者において、エミクススタトが視覚サイクルを調節することがエレクトロレチノグラムによる測定により実証されました。当該試験は障害の増悪に対するエミクススタトの効果を検知するためにデザインされていませんでしたが、桿体光受容体活動の抑制と障害増悪率との関連性が見出せるか否かを検証するための結果解析が実施されました。エミクススタト併用治療時の障害増悪率に關与する桿体光受容体活動の結果解析では桿体光受容体活動の大幅な抑制を伴って障害増悪率の減少傾向が示されたのに対し、プラセボで同じ傾向は示されませんでした。この傾向は桿体光受容体活動において50%以上の抑制が実証されたエミクススタト投与量グループでより顕著となりました。

また、本試験により以下の事象が確認されました。

- ・ 経口による投与で網膜に到達。
- ・ 用量依存的様態により視覚サイクルを調節。
- ・ エミクススタトは全身の有害事象をほとんど伴わないこと。

最も頻繁に認められた有害事象は、頭痛、尿路感染症およびめまいでありました。全身的有害事象の大半は軽度から中等度であり、治験薬との因果関係は否定されました。眼に関する局所的な有害事象で最も頻繁に認められたものは、色視症、夜盲症および視力障害でありました。これらの多くは薬効により説明ができ、軽度から中等度でありエミクススタトの投与終了とともに解消されました。

### フェーズ2b/3試験

2013年第1四半期、当社は、約440名の地図状萎縮を伴うドライ型AMD患者を対象とする、エミクススタトの安全性および有効性をプラセボと比較するための、無作為、二重盲検、投与量暫定フェーズ2b/3試験を開始しました。当社は、2014年中旬までに被験者の登録をほぼ終了し、その後約12か月および24か月時点において試験データを収集する予定です。当該試験の目的は、以下に記載する薬剤効果の変化を評価することです。

- ・ 眼底自己蛍光イメージの測定による治療群および対照群における地図状萎縮の進行率
- ・ ウエット型AMDへの進行
- ・ 安全性および忍容性

当該臨床試験デザインはFDAとの協議の上で最終決定され、12か月および24か月時点での地図状萎縮の進行率の分析が含まれます。当社は、当該試験デザインが欧州での申請に適応できると期待しています。

地図状萎縮は治療法がない深刻な疾患であるため、仮に12か月時点のデータにより当薬剤の著しい有効性と安全性が実証された場合、FDAへのNDA申請および欧州医薬品庁（以下「EMA」といいます。）への販売承認申請を提出し、エミクススタトの承認認可を要請する計画です。継続的な販売の承認の条件として、規制当局により追加の有効性および/または安全性データを要求される可能性があります。

### 当社のVCMを基礎とする製品および網膜に関する製品のその他潜在市場

当社は、エミクススタトを含むVCMを基礎とする製品および網膜に関する製品が、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫ならびにスターガート病、網膜色素変性症および未熟児網膜症などのその他の眼疾患を治療する能力を有するものと確信しております。

#### 糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫

**疾患の概要** 糖尿病性網膜症および糖尿病性黄斑浮腫は、大部分の先進国の労働年齢人口における主な失明原因であります。糖尿病性網膜症は糖尿病の一般的な合併症であり、慢性的に上昇した血糖値により網膜の毛細血管を損傷し、結果として網膜細胞への酸素供給における慢性疾患をもたらすものです。糖尿病性網膜症は、視力障害そして深刻なケースにおいては重篤な不可逆性失明をもたらす場合もあります。

糖尿病性黄斑浮腫もまた、糖尿病の一般的な合併症であり、しばしば糖尿病性網膜症の進行を伴います。網膜の高血糖値が毛細血管を損傷すると同時に、血液網膜関門が破壊され、血管壁から血液や血漿が漏出します。詳細な中心視野をつかさどる網膜の一部である黄斑へ血液や血漿が漏出し浮腫が発生した際に糖尿病性黄斑浮腫と診断されます。糖尿病性黄斑浮腫は、視力障害、重度の視力低下および失明を引き起こす可能性があります。

**罹患率** MarketScope社によると、2012年、米国において約2,400万人および全世界において3億7,400万人以上が、糖尿病を患っています。米国およびその他複数の諸国を悩ませている肥満の流行を考慮すると、糖尿病による影響を受けている人数、すなわち糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫の進行のリスクは今後増加するものと思われます。国立眼学研究所によると、約40~45%の糖尿病患者が、何らかの糖尿病性網膜症を発症するという事です。糖尿病を患い寿命を保つほど、糖尿病性網膜症を発症する可能性が高くなります。MarketScope社は、2012年において米国において約990万人および全世界において9,750万人が糖尿病性網膜症患者であり、かかる数値は2025年までに米国で1,210万人および全世界で1億3,050万人まで増加すると推定しています。

糖尿病を患う人々の約10%が、生涯の間に糖尿病性黄斑浮腫を発症します。MarketScope社は、2012年、米国において170万人が糖尿病性黄斑浮腫を患っており、かかる数値は2025年までに220万人以上に増加するものと推定しています。MarketScope社によると、全世界においては、2012年にほぼ2,230万人が糖尿病性黄斑浮腫を患っており、かかる疾患を伴う人数は、2025年までには3,020万人に達すると推定しています。

**既存の治療とその限界** 現在、糖尿病性網膜症に対し承認を受けた薬剤は存在しません。FDAの承認を受けた治療のうち最も一般的なものは、血液および血漿の漏出を止めることにより疾患の進行を減速するレーザー光凝固術です。硝子体ゲルに液体が漏入した患者では、濁った硝子体ゲルを除去し食塩水と入れ替える、硝子体茎切除術と呼ばれる手術が必要な場合もあります。さらに、糖尿病性網膜症の治療に対しては、レーザーや外科治療などの侵襲性の高い治療が一般的に用いられています。また、コルチコステロイドによる糖尿病性網膜症治療も一部行われていますが、承認適応外使用によるものです。

近年、血管内皮増殖因子 (VEGF) が糖尿病性黄斑浮腫の発症機序に関与していることがわかってきました。2011年2月、ノバルティス社は、抗VEGF治療剤であるLucentisの糖尿病性黄斑浮腫に対する欧州における規制承認を取得しました。米国においては、ロシュ・ジェネンテック社が2012年8月に、Lucentisの糖尿病性黄斑浮腫に対するFDA承認を獲得しています。しかしながら、抗VEGF治療剤は眼に直接注射する必要があります。また、コルチコステロイドによる糖尿病性黄斑浮腫治療も一部行われていますが、承認適応外使用によるものです。当社は、経口錠剤など患者自からが投与できる、安全かつ手軽な糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫治療のための治療剤の開発・承認によって大きなビジネスチャンスが得られると確信しています。

**製品候補** エミクススタトは、網膜における桿体光受容体に作用し、視覚サイクルを減速させることで、有毒副産物の影響および酸化ストレスによる損傷を低減し、また光損傷から網膜を守る薬剤です。視覚サイクルは暗闇下で酸素を過剰に消費し、糖尿病性網膜症に伴う問題を引き起こします。エミクススタトは、桿体光受容体システムの活動を安全に低減することで、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫患者の視覚サイクルにおける酸素の消費を減少させ、網膜に栄養分を与えるために必要な血液供給を低減させることで、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫の進行を減速または抑制するものと考えられています。

**開発状況** ドライ型AMDの治療および進行抑制を目的としてこれまでに実施されたエミクススタトの非臨床および臨床データは、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫の開発にも適用できる可能性があります。糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫を対象に実施された非臨床試験の結果から、エミクススタトによるRPE65の抑制が糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫の進行を減速または遅延させると期待されています。動物実験の結果からは、エミクススタトが鉄分の流量を低減させ、網膜内の酸素量を増加させることが示唆されています。

以下の表は、エミクススタトによる糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫に対する非臨床試験の概要を示しています。

試験	評価項目	結果
マンガン増強された磁気共鳴映像法 (MRI) によるラットに対するエミクススタトの影響	光受容体鉄分流量の低下	光受容体鉄分流量1mg/kgの低下
暗順応させたラットに対するエミクススタト1mg/kgの影響 網膜酸素測定	網膜酸素濃度の増加	網膜酸素濃度1mg/kgの増加
酸素誘導された網膜症のマウスに対するエミクススタトの影響	虚血性血管新生の低下	ED <sub>50</sub> = 0.46mg/kg

## その他の眼疾患

### スターガート病

スターガート病は、桿体および錐体光受容器の進行性消失を引き起こし、中心視野の消失に至る遺伝的黄斑変性の最も一般的な形態であると考えられています。当社は、スターガート病が、米国において少なくとも30,000人に影響を及ぼしていると考えています。現在、スターガート病のための承認された治療はありません。かかる疾患の主な特徴のひとつは、地図状萎縮の患者に多くみられるものと類似する、眼底部における深刻な過剰自己蛍光です。かかる過剰自己蛍光は、ピリジニウムビスレチノイドが主な蛍光色素分子である網膜リポフスチンの過剰な蓄積によるものと考えられています。前臨床のマウスを使った研究において、エミクススタトは異性化法によるピリジニウムビスレチノイドの形成を低減するのに効果的でありました。従って、当社は、エミクススタトがスターガート病の治療に効果的である可能性があると考えています。当社は、かかる希少な適応症に対する潜在的な開発プログラムを探求しています。

### 未熟児網膜症

未熟児網膜症は、主に、出生時に3ポンド未満または在胎期間が32週未満の重度の未熟児に影響を及ぼす視力を脅かす眼疾患です。未熟児網膜症では、幼児期において血管が異常に成長し、網膜へ拡大します。かかる疾患は、幼児期における視力障害の最も多い原因であり、生涯にわたる視力障害および失明を引き起こすこともあります。国立眼学研究所によると、米国において毎年推定で400人から600人の子供が未熟児網膜症により失明しています。未熟児網膜症の現在の治療は、レーザー治療または血管の成長を妨害する凍結療法などがあります。これらの治療の結果は、周辺視力の部分的な消失です。最近になって、未熟児網膜症の治療の可能性があるとして血管新生阻害剤が研究されています。FDAの承認を受けた未熟児網膜症のための治療法はありません。当社は、エミクススタトが視覚サイクルにおける酸素消費率を低下させ、その結果網膜および関連する刺激物に栄養分を与え、新たな血管を増殖するのに必要とされる血液供給を低減し、未熟児網膜症の治療に効果的である可能性があるかと確信しています。当社は、かかる希少な適応症に対する潜在的な開発プログラムを探求しています。

### 網膜色素変性症

網膜色素変性症は、網膜の光受容細胞に進行性的変性を引き起こす遺伝性の疾患群です。MarketScope社の推定によると、米国において約35万人および全世界で340万人が網膜色素変性症またはその他の遺伝性網膜症に罹患しています。現在、網膜色素変性症およびその他の関連する遺伝性の網膜変性症に対する治療薬はありません。網膜色素変性症の新しい治療薬を研究するための複数の臨床試験が進められています。網膜色素変性症は、100種類もの異なる遺伝子と関連付けられ、これらの遺伝子変性がRPEおよび光受容細胞の異常の原因となります。光受容細胞の消失は通常、さらに網膜の機能を低下させる、RPE細胞の異常増殖、老廃物の蓄積ならびに微小血管の閉塞に付随して起こります。当社は、エミクススタトが特定の種類の網膜色素変性症の治療に効果がある可能性があるかと確信しています。当社は、かかる希少な適応症に対する潜在的な開発プログラムを探求しています。

### 緑内障治療のためのOPA-6566

**疾病の概要** 緑内障は、網膜神経節細胞に不可逆的損傷をもたらす進行性の視神経症です。当該損傷は、とりわけ適切な治療が施されない場合に視覚機能の低下および失明につながる可能性があります。世界的には、緑内障は失明の主な原因の一つです。慢性緑内障に対する既知の治療法がないため、主要な治療目標は、治療の開始後、さらなる進行を防ぐことおよび視覚機能を維持することにあります。

緑内障は、眼房水の出口の大部分の解剖学的位置である前房隅角が開いているか閉じているかにより、開放隅角緑内障および閉塞隅角緑内障の2つの類型に分けられます。開放隅角緑内障は、より有病率の高い緑内障の形態であり、米国では症例の90%、全世界では74%を占めています。最も多い緑内障の症例は、眼圧の上昇によって特徴づけられ、とりわけ視神経および網膜神経線維束の構造的異常につながり、視野の異常をもたらします。これらの異常は、広範囲に及ぶようになるまで無症状です。眼圧の上昇は、緑内障の進行においてもっとも重要なリスク要因であり、緑内障による神経障害において眼圧が重要な要素となっているという強力な証拠が多数の研究により提供されています。

**罹患率** Frost & Sullivan社によれば2010年に米国において450万人の成人が緑内障の前駆症状である高眼圧症を患っており、2015年までに490万人に増加すると推定されています。また、Frost & Sullivan社によれば、2010年に米国において280万人の成人が開放隅角緑内障であり2015年までに300万人に増加するとも推定されています。

**既存の治療法およびその限界** 高眼圧症および開放隅角緑内障患者の眼圧を下降させるために多数の医薬品が開発および承認されていますが、現在、繊維柱帯/シュレム管を通じた流出を直接強化する、承認済みの治療法はありません。これらの症状に対し最も一般的に処方されている第一選択薬は、プロスタグランジン類似体およびブロッカーです。適切な眼圧管理を達成するため複数の薬剤の併用療法が必要な患者もいます。これらのクラスの薬剤は、局所的副作用および/または全身性副作用と関連しています。例えば、プロスタグランジン類似体は眼の充血、虹彩および/またはまぶたの色素沈着、ならびに睫毛の延長を引き起こす場合があります。局所ブロッカーは、除脈または心拍数の減少、気管支収縮および気道狭窄を起こす場合があります。

緑内障は世界的に失明の主要原因の一つであるため、眼圧を下降させるための有効な新しい治療法の導入に対し世界的に大きな医療ニーズがあります。当社は新たなクラスの眼圧下降剤の導入に対する大きな商業的チャンスが存在すると確信しています。

**製品候補** OPA-6566は選択的アデノシンA2a受容体アゴニストであり、高眼圧症または開放隅角緑内障の患者において眼圧を下降させるための局所的点眼剤として処方される新規の化合物です。OPA-6566は、既存の治療薬とは異なる作用機序を採用しています。ぶどう膜強膜排出を強化することにより眼圧を下降させるプロスタグランジン類似体または房水産生を抑制するブロッカーとは違い、OPA-6566は繊維柱帯/シュレム管からの標準的な房水排出路を強化することを意図しています。眼圧を下降させるためのかかる新しい作用機序により、当社は、OPA-6566が単剤治療としてまたは他の治療法との併用において有益となる可能性があるかと確信しています。

**開発状況** 開放隅角緑内障または高眼圧症患者の眼圧を下降させるためのOPA-6566に関するINDが2011年6月にFDAに提出されました。当社は、オリジネーターである大塚製薬との提携により、開放隅角緑内障または高眼圧症の患者に対するOPA-6566のフェーズ1/2臨床試験を米国において実施しました。当該試験は、ファースト・イン・ヒューマン、無作為、多施設、プラセボ対照および実薬対照 (latanoprost)、治験責任医師盲検化、投与量増加 (4量)、並行群間試験により、160人の被験者に対し4週間にわたり安全性、薬物動態および有効性 (眼圧下降効果) を評価することを意図したものです。臨床試験の結果、入手可能な患者の臨床データにおいて動物実験の結果に基づき予想される薬理効果が示されなかったため、次のフェーズの臨床研究を実証するためにさらなる非臨床評価が必要であることを示しています。また、臨床試験の結果、OPA-6566がプラセボと比較して眼圧の下降に関し有効であることが実証されませんでした。現在、この結果をさらに検証するための研究が実施されています。したがって当社は、次のフェーズ1/2臨床試験は2015年までは開始されないと予想しております。

完了したフェーズ1/2試験の結果は、プラセボと同等の割合およびlatanoprostよりも低い割合で、OPA-6566の全体的な有害事象および眼の有害事象が報告されました。眼の充血は、この研究において最も広く報告された有害事象であり、OPA-6566による治療群の被験者の8%から21%、プラセボ群の被験者の9%、およびlatanoprost群の被験者の53%に見られました。当該研究において、深刻な有害事象は報告されませんでした。また、有効性評価である眼圧低下作用では、ほとんどの比較において、OPA-6566とプラセボに差を認めることができませんでした。

## 大塚製薬との提携

### エミクススタト

2008年9月、当社は大塚製薬との間で、エミクススタトおよび/またはドライ型AMDその他両当事者の合意する潜在的な眼科適応症の治療のためのバックアップ化合物の開発および商業化のため、共同開発および提携契約(以下「エミクススタト契約」といいます。)を締結しました。エミクススタト契約の条項に従い、

- ・ 大塚製薬は、当初ライセンス料として5百万米ドルを当社に支払いました。
- ・ 大塚製薬は、米国におけるフェーズ2臨床試験(またはその他の北米の国々における類似の試験)の完了に先立ち発生した開発費用全額の40百万米ドルを負担しました。また大塚製薬は、ドライ型AMDおよびエミクススタト契約に基づき設置された共同開発委員会すなわち「エミクススタト共同開発委員会」(以下「エミクススタトJDC」といいます。)によって研究のために選択されたその他の将来的な眼科適応症のためのエミクススタトの開発を含む合意済みの開発計画に基づき発生した、40百万米ドルを超える継続中の開発費用を当社と均等に負担します。
- ・ 大塚製薬は40百万米ドルを超える開発費用のうち当社の負担分の支払いのため、当社に資金を融資します。
- ・ 大塚製薬は、ドライ型AMD以外の眼科適応症のためのエミクススタトの基礎研究、ならびにエミクススタトのバックアップ化合物の基礎研究を含む合意済みの研究計画に基づく両当事者による共同研究プログラムに対する資金提供として、当社に対し3年間にわたり15百万米ドルを支払いました。
- ・ エミクススタト契約に従い開発された製品および化合物に関する当社の臨床試験が成功しその他の条件が満たされた場合、大塚製薬は当社と共に、北米においてそれらの製品の共同販売に参加する選択権を有しており、損益を当社と分配します。当社が北米の1か国または複数の国において共同販売に参加することを選択しなかった場合、大塚製薬はエミクススタト契約に従い開発された製品をそれらの国において排他的ライセンスに基づき単独で商業化し、当社に対し純売上高の金額に応じてその19%から23%に相当するロイヤリティを支払います。
- ・ 大塚製薬は、エミクススタト契約に基づき開発された製品および化合物に関し、当社が大塚製薬の単独テリトリーと呼ぶアジア、太平洋、中東および北アフリカの選択された国々において、単独での開発権および商業化権を有し、当社に対し純売上高の2%のロイヤリティを支払います。
- ・ 当社は、エミクススタト契約に基づき開発された製品および化合物に関し、ヨーロッパおよび南米において、ならびに北米および大塚製薬の単独テリトリー以外の地域または国において、単独での開発権および商業化権を有し(ただし当社がこれらの権利を第三者にライセンス付与する意向である限り、大塚製薬がこれらの権利に対する優先交渉権を持ちます。)、当社は大塚製薬に対し純売上高の2%のロイヤリティを支払います。
- ・ エミクススタトJDCが、追加的な眼科適応症および他の製剤のためのエミクススタトに関し共通テリトリーにおける開発を認めない場合、各当事者は単独テリトリーにおける単独での開発権および商業化権を有します。
- ・ 大塚製薬は、一定の開発目標ならびに規制当局への申請および承認の達成に基づき、当初ライセンス料およびこれまでに支払済みのマイルストーンを除き、最大で77.5百万米ドルに上るマイルストーン支払義務を負う可能性があります。
- ・ 大塚製薬は、エミクススタトに関し合意済みの売上高水準への到達に基づき最大で175百万米ドルに上るマイルストーン支払義務を負う可能性があります。



当社が、エミクススタト契約に基づき北米の1か国以上の国に関しエミクススタトの共同販売を選択した場合、その売上高からの損益に対する当社の持分は、当社が選択時に決定した参加率により各国につき35%から50%の範囲となります。エミクススタトに関するNDAの提出に先立ち、現在当社は、50%の参加水準でエミクススタトの共同販売選択権を行使するつもりです。エミクススタトの純売上高に基づくロイヤリティ支払いは、国別に、商業化開始後10年間までまたは各国におけるエミクススタトの製造、輸入、使用もしくは販売を保護する特許権が満了するまでのうち遅い方の期間まで継続されます。ある国において一方当事者が支払うべき純売上高に対するロイヤリティの料率は、ある特定の国における特許権が満了する場合、削減されます。ロイヤリティの料率は、当該国においてエミクススタトのジェネリック医薬品の市場シェアが20%を超過した場合、50%削減されます。当社は、米国ならびに外国の特許権および特許出願に基づく当社の権利を大塚製薬にライセンス供与しています。

大塚製薬は、エミクススタト契約の満了または更新に先立ちいかなる理由によっても6か月前までにあらかじめ通知することによりエミクススタト契約を終了する権利を有します。また以下の条件でエミクススタト契約を解除できます。

- ・ 大塚製薬が40百万米ドルを超えるフェーズ2臨床試験にかかる開発費用またはフェーズ3臨床試験にかかる更なる開発費用の負担を行わない旨およびエミクススタト契約の終了を決定し、その旨を14日前に通知した場合
- ・ 大塚製薬がフェーズ2またはフェーズ3臨床試験の結果を検討した後、エミクススタト契約の終了を決定し、その旨を14日前までに通知した場合、および
- ・ 当社の新規株式公開を除き、当社の支配権の変更があった場合。

大塚製薬は、窪田氏が以下に該当する場合にも提携関係を終了することができます。

- ・ FDAによる一定の規制承認前に当社との雇用関係がなくなった場合。
- ・ 当社の最高経営責任者でなくなった場合。
- ・ エミクススタトJDCの共同委員長を辞したと大塚製薬が合理的に判断した場合。
- ・ 当社の開発チームの積極的かつ継続的に関与するメンバーではなくなったと大塚製薬が合理的に判断した場合。

大塚製薬の選択により提携が終了した場合または当社の破産、エミクススタト契約に関する治癒されない重大な違反もしくは当社の支配権の変更があった場合、または窪田氏に関する上記の条項により提携が終了した結果として、大塚製薬はエミクススタト契約に基づき開発された製品および化合物の開発、製造および商業化を継続することができます。また、当社の支配権の変更による提携終了の場合を除き、エミクススタト契約に基づくマイルストーンおよびロイヤリティの支払義務は50%減額されます。いずれかの当事者が何らかの理由により提携の終了を選択する場合(エミクススタト契約に関する大塚製薬による治癒されない重大な違反の結果として当社が契約の終了を選択した場合を除く。)でかつ当社がエミクススタトの開発および商業化を継続する場合、当社は、かかる提携終了後、エミクススタトの純売上高に対するロイヤリティを大塚製薬に支払わなければなりません。

エミクススタト契約に基づき、当社は北米においてフェーズ3臨床試験の完了を通じすべての開発活動の実施についての第一義的な責任を負い、また、両当事者がFDAに対するNDA申請プロセスを開始するまでの北米におけるすべての規制上の事項について責任を負います。大塚製薬は、北米において、NDAの作成および提出ならびにエミクススタト化合物または承認済みバックアップ化合物による治療薬の商業化に必要なその他の承認について第一義的な責任を負います。当社がエミクススタト契約書に基づくエミクススタトの共同販売を選択した場合、大塚製薬はエミクススタト契約から生じたすべての製品に関する北米における業務および会計の管理を行い、かかる製品の販売はすべて大塚製薬の名において行われるものとします。

当該提携は、それぞれ大塚製薬および当社から等しい数の代表者で構成されるエミクススタトJDCによって管理されています。商業化に係る多くの事項については、大塚製薬が最終的な意思決定権を有しています。開発に関する事項の意思決定は、通常は両当事者の承認を必要としますが、エミクススタトの臨床試験が失敗した場合のエミクススタトのバックアップ化合物の選択、バックアップ化合物として開発可能性のある1以上の潜在的化合物および関連する開発計画の選択ならびに承認、ドライ型AMD以外の適応症のための化合物の開発および関連する開発計画の承認、研究計画の承認ならびに当該提携における開発計画および研究計画に対する特定の資源の分配およびスケジュールについては大塚製薬が最終的な意思決定権限を持っております。

#### OPA-6566

2010年9月、当社は大塚製薬との間で、大塚製薬によって開発されたアデノシンA2a受容体アゴニストであるOPA-6566を緑内障および緑内障契約の条項に従い両当事者が合意したその他の将来的な眼科適応症の治療のために米国で開発および商業化するため、開発および提携契約（以下「緑内障契約」といいます。）を締結しました。緑内障契約に基づき開発された製品および化合物に関するフェーズ2および/またはフェーズ3の臨床試験が成功した場合、当社は、緑内障契約に従い、米国においてOPA-6566の共同開発および共同販売の権利を選択し行使することができます。緑内障契約の条項に基づき、

- ・ 大塚製薬は、当社のOPA-6566または米国において緑内障契約に基づき開発された製品を共同開発および共同販売する選択に先立ち発生した開発費用（もしあれば）の全額を資金提供します。
- ・ 緑内障契約に基づき開発された製品および化合物に関する当社のフェーズ2および/またはフェーズ3の臨床試験が成功し、当社がOPA-6566の共同販売を適時に選択し、当社の参画割合を指定した場合、当社は米国において大塚製薬とともにそれらの製品の共同販売を行い、合意済みの商業化計画に従い商業化費用および純売上高につき、支出額に制限があるものの、大塚製薬とともに折半します。
- ・ かかる選択後に発生した進行中の開発費用につき、大塚製薬は、緑内障および緑内障契約に基づき設立された共同開発委員会（以下「OPA-6566 JDC」といいます。）によって開発のためにその都度合意の上選択されたその他の将来的な眼科適応症および製剤のためのOPA-6566の開発を含む合意済みの開発計画に従い、支出額に制限があるものの、当社と共に折半します。
- ・ 当社がOPA-6566の共同開発および共同販売を選択した場合、当社は大塚製薬に対し、共同開発および共同販売のタイミングおよび参加水準（25%または35%のいずれか）によって100万米ドルから550万米ドルの範囲で参加手数料を支払う義務を負います。
- ・ 当社がOPA-6566の共同開発および共同販売を選択した場合、開発費用に対する当社の負担は、かかる選択後に発生する開発費用のおよそ半分となります。緑内障契約に基づき、両当事者による米国におけるOPA-6566の商業化による純売上高の分配は、緑内障契約に基づき設置される共同商業化委員会（以下「OPA-6566 JCC」といいます。）が商業化努力の終了を決定するまで継続されます。緑内障契約は、合意済みの開発計画に基づく最終のフェーズ3臨床試験の結果の判明後90日以内に当社がOPA-6566の共同開発および販売を選択しない場合、自動的に終了します。ただし、150万米ドル以上の手取金をもたらす当社の新規株式公開を完了しかつその他の条件に当てはまる場合、より早期に終了することがあります。
- ・ 当社が選択権を行使した場合、大塚製薬は、両者合意の上、以下を含む追加的選択権を当社に対し付与します：(1)米国において、緑内障以外の眼科適応症につきOPA-6566を共同開発および共同販売する権利、(2)米国において、緑内障につきOPA-6566の新製剤を共同開発および共同販売する権利ならびに、米国において、眼科疾患治療に用いられるその他のアデノシンA2a受容体アゴニスト化合物の共同開発および共同販売についての第一交渉権を当社に付与します。

当社が共同販売の選択を決定しなかった場合、大塚製薬は以下を含むその他の特定の理由により、緑内障契約の満了または更新に先立ち緑内障契約を終了する権利を有します。ただし、種々の通知期間による事前の通知が必要です。

- ・ 連続する18か月間に、緑内障契約に基づく開発活動がなかった場合またはかかる活動のために大塚製薬が支払いを実行しなかった場合。
- ・ 当社が緑内障契約に基づき開発中のいずれかの製品の開発を著しく遅らせ、大塚製薬がエミクススタト契約を何らかの理由により終了した場合。
- ・ エミクススタトの開発が失敗したとエミクススタトJDCがみなす場合。

大塚製薬は、以下の場合にも緑内障契約を終了することができます。

- ・ 当社の支配権に変更があった場合。
- ・ FDAからの一定の規制承認前に窪田氏の当社との雇用関係がなくなった場合。
- ・ 窪田氏が当社の常勤の最高経営責任者でなくなった場合。
- ・ 窪田氏がOPA-6566 JDCの共同委員長を辞した場合。
- ・ 窪田氏が当社の開発チームの積極的かつ継続的に関与するメンバーではなくなったと大塚製薬が合理的に判断した場合。

当社がOPA-6566の共同販売を選択した後に、窪田氏の死亡もしくは障害によりまたは大塚製薬による緑内障契約の重大な治癒されない違反により、当該提携が終了される場合、大塚製薬は緑内障契約に基づき開発された製品および化合物の開発、製造および商業化を継続することができ、同社は緑内障契約に基づき当社に発生した共同販売実行費用、開発マイルストーン支払いおよび開発費用立替金のすべての合計に等しい終了手数料を当社に支払う義務を負います。

当社が緑内障契約に基づくOPA-6566の共同販売を選択した場合、大塚製薬は緑内障契約に基づき開発された製品の製造および商業化に関し業務および会計の管理を行い、かかる製品の販売はすべて大塚製薬の名において行われるものとします。当該提携は、大塚製薬および当社からの等しい数の代表者で構成されている、OPA-6566 JCCおよびOPA-6566 JDCによって管理されています。開発および商業化に関する最終的な意思決定権限は大塚製薬に帰属します。

## レバミピド

2008年9月、当社は、大塚製薬によって開発された化合物であるレバミピドを含有する点眼剤を共同開発し、ドライアイ症候群の治療のための使用に関する米国でのFDA承認を取得するため、大塚製薬との間で共同開発契約（以下「レバミピド契約」といいます。）を締結しました。

2013年9月、大塚製薬は、フェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由により、レバミピド契約の条項に基づき、米国におけるドライアイ症候群治療のためのレバミピドの開発中止を決定し、レバミピド契約を解除しました。結果として、関連する臨床試験は中断され、当社の開発活動は中止されました。レバミピド契約の条項に従い、当社は、レバミピドまたは米国においてレバミピド契約に基づき開発された製品の開発、製造、マーケティング、販売もしくはその他の利用を商業的に合理的な条件により行うためのライセンスの取得について、大塚製薬に対して誠実な独占交渉の開始を要求する権利を留保しています。

## 販売およびマーケティング

当社は組織としての発展を続けておりまた当社の製品候補も発展しているため、当社は眼科領域に特化した独自の販売およびマーケティングのインフラストラクチャーを設立することにより販売およびマーケティング活動を開始する意向です。当社は、大塚製薬との提携戦略の一部として、当社のエミクススタト製品候補が臨床開発の最終段階に到達した時点で商業化権を取得する選択を留保しています。当社は、北米においてエミクススタトを共同販売する選択権を有しています。また、当社は米国におけるOPA-6566の共同開発および共同販売の選択権も有しています。当社の目的は、市場において当社の製品の上市および継続中の活動を支援するためのマーケティングおよび販売活動を成功させることです。当社は、この目的を達成するため、経験豊富な販売およびマーケティングの専門家を雇用し、また必要に応じて第三者による支援を利用します。

当社は、大塚製薬との緑内障契約に基づく共同開発および共同販売に関する選択をまだ行っていませんが、販売承認を受けた当社の製品候補の商業化のために使用可能な、眼科領域を専門とする特別な販売およびマーケティングのインフラストラクチャーを創設することを長期的戦略計画を作成中です。当社は、社内の販売およびマーケティング努力を眼科医（および、必要な場合、検眼士）に集中するつもりです。

下表は、大塚製薬との各提携プログラムに関する当社の商業化権を地域別に示したものです。

医薬品	米国	カナダ、メキシコ	ヨーロッパ	南米および アフリカ	アジア、太平洋、中東および北アフリカ
エミクススタト	共同開発および共同販売（損益の分配）または純売上高に対するロイヤリティ支払いの選択			単独商業化権	純売上高に対するロイヤリティ支払い
OPA-6566	共同開発および共同販売の選択権	該当なし	該当なし	該当なし	該当なし

#### 製造および供給

当社は、研究、開発、非臨床および臨床試験のため医薬品の製造管理および品質管理に関する基準に準拠したエミクススタトの製造を第三者に依存しており、独自の生産体制を構築する予定はありません。エミクススタト契約の条項に基づき、大塚製薬は、当社により次のフェーズ3臨床試験の開始からエミクススタトの製造および供給に関し責任を負うこととなります。当社は、大塚製薬と合意の上、当社の製剤の開発および製品候補の将来的な大量生産について、第三者製造業者との関係を維持しています。大塚製薬は、OPA-6566製品の製造および販売について責任を負っています。

当社は、臨床上の必要条件および将来の商業生産における要求を満たす、商業上合理的な条件で利用可能な複数の製造資源があると考えておりますが、将来の製造についていかなる製造業者に対しても契約上の取決めを行っておりません。

#### 4【関係会社の状況】

該当事項はありません。

#### 5【従業員の状況】

2013年9月30日現在、当社の従業員は86名（フルタイム82名およびパートタイム4名）であり、このうち18名が研究、32名が臨床開発および36名が運営管理に従事しました。従業員の平均年齢は46歳であり、平均勤続年数は2.75年でした。平均年間給与（賞与を含みます。）は、148,000米ドルでした。当社の従業員には、労働組合の組合員はおらず、労働協約は適用されません。当社は雇用関連のストライキを経験したことはなく、従業員との関係は良好であると考えております。2013年10月、当社は、約30名の従業員の削減を含む費用削減計画を策定いたしました。

## 第3【事業の状況】

### 1【業績等の概要】

当社の財務状況および業績に関する以下の考察および分析は、本書に含まれる財務書類および関連する注記とともにお読みください。過去の財務情報に加え、以下の考察には将来予測の記述が含まれており、それらには当社の計画、見積りおよび意見が含まれています。当社の実際の業績は、これらの将来予測の記述またはそれらにより暗示されるものと著しく異なる可能性があります。それらの差異を引き起こし、またはそれらの差異の一因となる要因として、以下の記載および本書の他の箇所（特に「第3 事業の状況 - 4 . 事業等のリスク」）に記される要因が含まれます。

#### 概要

当社は、世界中で数百万人の人々の視力を脅かしている眼疾患を治療し、またはその進行を遅らせるための新しい治療法の探索および開発を専門とする、臨床段階のバイオテクノロジー企業です。当社は、自社で開発した視覚サイクルモジュレーター（以下「VCM」といいます。）の経口製剤の開発に注力しており、加齢黄斑変性（以下「AMD」といいます。）、糖尿病性網膜症、糖尿病性黄斑浮腫をはじめ、スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症など、様々な網膜疾患に対する治療薬の開発に取り組んでいます。当社のVCM化合物は、網膜に蓄積する毒性副産物を減少させ、酸化ストレスによる損傷を軽減し、また、光による損傷から網膜を保護することにより、これら網膜疾患の根本原因に対処するものと期待されています。

当社は、眼疾患の治療を目的として2002年4月に設立されました。2003年において、当社は、ある製薬会社の複数の薬品化合物における当社のスクリーニング技術による一定の前臨床データを生成するために、同社との間に契約を締結しました。2003年から2005年において、当社は、別会社との間に、細胞に基づく発見ツールの開発を行うための複数の提携契約を締結し、かかる契約に基づく費用の共同負担により収益を創出しました。2006年および2007年には、当社は複数の薬品化合物の前臨床データを生成するための契約を、それぞれ異なる製薬会社との間に締結しました。会社設立から2007年12月31日までに、当社がこれらの研究開発契約に基づき創出した収益は少額でした。

2007年から、当社はVCMの開発努力に焦点を当て始めました。2008年4月、当社は、独自に開発されたVCMを基礎とする経口化合物であるエミクススタ塩酸塩（以下「エミクススタ」といいます。）について米国食品医薬品局（以下「FDA」といいます。）に新薬承認申請を提出し、かかる申請は2008年5月に有効になりました。

2008年9月に、当社は、大塚製薬との間に、ドライ型AMDおよびその他の眼科の症状のためのエミクススタおよびエミクススタのバックアップを共同開発および商業化するための契約を締結しました。エミクススタ契約と称されるかかる契約の条件に基づき、大塚製薬は、当社に対し初回ライセンス手数料である5.0百万米ドルを支払い、また、とりわけ、上限を40.0百万米ドルとするすべての開発費用を資金提供し、また、エミクススタの潜在的な適用ならびにそれらのバックアップに関連し、3年間にわたる15.0百万米ドルの提携プログラムを提供しました。大塚製薬は、2011年に40.0百万米ドルの開発資金提供の義務および3年間にわたる15.0百万米ドルの提携プログラムの義務を履行しました。2011年から、当社は、これらの開発費用うち当社の負担部分を大塚製薬が資金提供し、かかる費用はエミクススタの商業化により得られる利益（もしあれば）または売上もしくはライセンス手数料（もしあれば）により返済されることを取り決めた大塚製薬との契約に基づき、開発費用を共同負担しています。財務書類の注記に記載されるとおり、当社は、かかる資金提供の受領に関連する収益を認識し、かかる契約に基づき、2012年12月31日終了年度および2013年9月30日に終了した9か月間において、それぞれ約9.7百万米ドルおよび11.6百万米ドルの収益を認識しました。2013年9月30日現在、かかる契約に基づき0.9百万米ドルの発生利息につき、偶発的な支払義務を負っています。エミクススタ契約はまた、当事者間におけるロイヤリティの支払い、一定条件における損益分担ならびにさまざまな開発、規制および売上目標の達成に基づく最高257.5百万米ドルのマイルストーン支払いを大塚製薬から受領することができる条件を規定しています。2013年第1四半期において、当社は本契約に基づき、米国において現在進行中のエミクススタのフェーズ2b/3試験の開始に関連し、5.0百万米ドルのマイルストーン支払いを受領しました。

2011年に大塚製薬がエミクススタ契約に基づく3年間にわたる15.0百万米ドルの提携プログラムの義務を履行したため、当社はVCM化合物に関連する独自の開発研究活動に投資を続けています。当社は、当社が継続して製品候補を発見、開発するのに伴い、研究開発費用が増加するものと見込んでおります。

2008年9月、当社はまた、大塚製薬との間にドライアイ症候群治療のためのレバミピド点眼薬 (レバミピド) を米国において共同開発する契約を締結しました。レバミピド契約と称されるかかる契約の条件に基づき、大塚製薬は、当社に対して2.0百万米ドルの初回手数料を支払い (かかる手数料は前受収益として計上されました。)、とりわけ、契約に基づき発生するすべての開発費用を資金提供し、さまざまな開発および規制目標の達成に基づく最高30.0百万米ドルのマイルストーン支払いを行い、一定の売上水準を達成した際に最高6%の特許権使用手数料を支払うことに合意しました。2012年に当社は、かかる契約に基づき米国において現在進行中のレバミピドのフェーズ3臨床試験の開始に関連し、5.0百万米ドルのマイルストーンを獲得しました。2013年9月、大塚製薬は米国におけるフェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由により、米国におけるドライアイ症候群治療のためのレバミピドの開発中止を決定し、レバミピド契約を解除しました。関連する臨床試験は中断され、当社の開発活動は中止されました。レバミピド契約が解除された結果、2.0百万米ドルの返還条項が終了となり、その後当社は2013年9月30日に終了した四半期において2.0百万米ドルを収益として認識しました。さらに当社は、レバミピド契約の解除の結果として、2013年10月、人員削減を含む費用削減計画を発表しました。当社は、かかる計画を2013年第4四半期に実施し、2013年12月31日に終了する3か月間において退職金、その他の退職手当および再就職支援に関する費用を計上する予定です。

2010年9月に、当社は大塚製薬との間に、米国において緑内障治療のためのアデノシンA2a受容体アゴニストであるOPA-6566について共同開発および共同販売を行う選択権を獲得する契約を締結しました。緑内障契約と称されるかかる契約に基づき、大塚製薬は、とりわけ、当社が米国においてOPA-6566の共同開発および共同販売を行う選択権を行使するまでのすべての開発費用を資金提供し、その後は当社も開発費用を共同で負担し、商業化費用における分担に責任を有することに合意しました (いずれも一定の制限を受けます。)。緑内障契約はまた、さまざまな規制および売上目標を達成した際に、当社が大塚製薬に支払う、最高130百万米ドルのマイルストーン支払いおよび参加手数料を規定しています。当社は2012年に米国においてOPA-6566のフェーズ1/2臨床試験を開始し、現在当社および大塚製薬は、プログラムの次段階を評価中です。

2013年9月30日現在、当社は2.6百万米ドルの累積欠損および31.8百万米ドルの株主資本を有していました。2002年から2007年にかけて、当社は主に、28.2百万米ドルの純利益をもたらした転換優先株式の売却により運営資金を拠出しました。2006年において、当社は総額12.0百万米ドルの4つの条件付転換債務を発行しました (かかる社債は、社債権者により異なる金額および満期日に延長されました。)。現在までのその他の資金拠出は、主に前払手数料または初回ライセンス手数料、提携契約に基づく研究開発活動、マイルストーン支払いおよびエミクススタト契約に基づく大塚製薬による開発費用の当社負担分の資金提供によるものであります。2013年9月30日現在、当社は現金および現金同等物ならびに投資を21.7百万米ドルならびに5.0百万米ドルの制限付短期および長期投資により担保された5.8百万米ドルの信用枠を有していました。

## 業績

以下の表は、表示される期間における損益計算書の一定の項目を売上高に対する割合および期間における変化を示したものです。

	12月31日終了年度		2011年-2012年 増減 (%)	9月30日に終了した9 か月間		2012年-2013年 増減 (%)
	2011年	2012年		2012年	2013年	
関連当事者との提携からの収益	100.0%	100.0%	35.6%	100.0%	100.0%	18.7%
費用:						
研究開発費	70.7%	68.1%	30.7%	64.6%	62.9%	15.5%
一般管理費	18.0%	16.8%	26.1%	16.9%	18.5%	29.7%
費用合計	88.7%	84.9%	29.8%	81.5%	81.4%	18.5%
営業利益	11.3%	15.1%	81.8%	18.5%	18.6%	19.3%
受取利息	0.1%	0.1%	28.6%	0.1%	0.2%	339.1%
支払利息	(0.4)%	(0.3)%	(3.5)%	(0.3)%	(0.2)%	(14.6)%
その他の収益 (費用) (純額)	0.1%	(0.2)%	(348.7)%	(0.1)%	0.2%	(455.0)%
税引前当期利益 / 税引前四半期純利益						
益	11.1%	14.7%	80.3%	18.2%	18.8%	22.5%
法人税ベネフィット (費用)	7.2%	(5.7)%	(206.7)%	(6.5)%	(6.5)%	19.3%
当期純利益 / 四半期純利益	18.3%	9.0%	(33.3)%	11.7%	12.3%	24.3%

## 2012年9月30日に終了した9か月間と2013年同日終了の9か月間の比較

## 関連当事者との提携からの収益

2013年9月30日に終了した9か月間における関連当事者との提携からの収益は総額で約41.7百万米ドルであり、前年同期と比較し、約6.6百万米ドルまたは18.7%の増加を示しました。収益におけるかかる増加は主に、フェーズ2b/3臨床試験の開始に関連する5.0百万米ドルのマイルストーン支払いを含む、フェーズ2b/3臨床試験における活動増加に関連する、エミクススタト契約に基づく開発サービスからの14.5百万米ドルの増収に起因するものですが、緑内障契約に基づくフェーズ1/2臨床試験の完了による4.8百万米ドルの減収およびレバミピド契約に基づくフェーズ3臨床試験の完了による3.1百万米ドルの減収により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。

以下の表は、当社の臨床プログラムからの収益を示しています (単位：パーセンテージを除き、千米ドル)。

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年	2013年	2012年から2013年にかけての推移	2012年から2013年にかけての推移(%)
専有技術	13,999	28,464	14,465	103.3%
インライセンス <sup>(1)</sup>	21,142	13,231	(7,911)	(37.4)%
計：	35,141	41,695	\$6,554	18.7%

(1) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間におけるインライセンス収益の過半は、レバミピドによるものでした。

**専有技術** 2013年9月30日に終了した9か月間において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムからの収益は、前年同期から14.5百万米ドルまたは103.3%増加しました。かかる増加は主に、フェーズ2b/3臨床試験の開始に関連した5.0百万米ドルのマイルストーン支払いならびにかかる試験の準備および遂行に関する活動の増加によるものでした。

**インライセンス** 2013年9月30日に終了した9か月間において、インライセンス臨床プログラムからの収益は、前年同期から7.9百万米ドルまたは37.4%減少しました。かかる減少は主に、緑内障契約に基づくフェーズ1/2臨床試験の完了による4.8百万米ドルの減収およびレバミピド契約に基づくフェーズ3臨床試験の完了による3.1百万米ドルの減収ならびに2.0百万米ドルの繰延収益の認識に起因するものでした。2013年9月に、大塚製薬は、フェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由によりレバミピド契約を解除しました。従って、かかる契約の解除により、予測可能な将来におけるインライセンス臨床プログラムによる当社の収益は、過去の水準よりも著しく低くなるものと当社は予想しております。レバミピド契約が解除された結果、返還条項が終了となり、2.0百万米ドルの繰延収益を認識しました。

#### 費用

##### 研究開発

2013年9月30日に終了した9か月間における研究開発費は、総額で約26.2百万米ドルであり、前年同期と比較し約3.5百万米ドルまたは15.5%増加しました。かかる増加は、エミクススタトのフェーズ2b/3臨床試験の開始および実施に関連する研究開発費が7.1百万米ドル増加したことにより起ります。かかる増加は、OPA-6566のフェーズ1/2試験の完了による研究開発費の3.5百万米ドルの減少により相殺されました。社内研究活動に関連する費用は、実質的に前年同期と同様でした。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究活動に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています (単位：パーセンテージを除き、千米ドル)。

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年	2013年	2012年から2013年にかけての推移	2012年から2013年にかけての推移(%)
専有技術	9,743	16,813	7,070	72.6%
インライセンス <sup>(1)</sup>	11,074	7,528	(3,546)	(32.0)%
社内研究	1,878	1,880	2	0.1%
計：	22,695	26,221	\$3,526	15.5%

(1) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間それぞれにおけるインライセンス費用の過半は、レバミピドによるものでした。





**専有技術** 2013年9月30日に終了した9か月間において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムに関連する研究開発費は、前年同期に比べ7.1百万米ドルまたは72.6%増加しました。かかる増加は主に、エミクススタトのフェーズ2b/3試験の開始および実施に関連する開発活動に起因するものでした。

**インライセンス** 2013年9月30日に終了した9か月間におけるインライセンス臨床プログラムに関連する研究開発費は、OPA-6566のフェーズ1/2試験の完了により、前年同期に比べ3.5百万米ドルまたは32.0%減少しました。2013年9月に、大塚製薬は、フェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由によりレバミピド契約を解除しました。従って、かかる契約の解除により、予測可能な将来におけるインライセンス臨床プログラムによる当社の収益は、過去の水準よりも著しく低くなるものと当社は予想しております。

**社内研究** 2013年9月30日に終了した9か月間における当社の創薬研究活動に関する研究開発費は、前年同期と同水準でした。

**一般管理費** 2013年9月30日に終了した9か月間における一般管理費は、前年同期と比べて約1.8百万米ドルまたは29.7%増加し、総額で約7.7百万米ドルでありました。かかる増加は主に、当社CEOに対し雇用契約に基づき付与された株式および関連する報酬の総額0.8百万米ドルによるものであり、また、金額はそれほどではないものの、人員の募集およびそれに関連する支出が増加したことによるものでありました。報酬および給付金費用もまた、従業員の増加および一般管理部門の人員に関連する株式報酬費用の上昇に起因し、増加しました。

**法人税費用** 2013年9月30日に終了した9か月間における法人税費用は、総額で約2.7百万米ドルでした。2012年9月30日に終了した9か月間における法人税費用は、約2.3百万米ドルでした。これは、2013年および2012年のそれぞれの実効税率35%および36%を反映したものです。米国の連邦法定税率34%と当社における実効税率の差は主に、会計上の利益および課税所得の差に起因するものであります。

## 2011年12月31日終了年度と2012年同日終了年度の比較

### 関連当事者との提携からの収益

関連当事者との提携からの収益は総額で約46.4百万米ドルであり、前年の34.2百万米ドルと比べて約12.2百万米ドルまたは35.6%の増加を示しました。収益におけるかかる増加は主に、提携契約に基づく開発サービスからの11.1百万米ドルの増収に起因し、これにはレバミピド・プログラムのフェーズ3臨床実験が開始された結果としての大幅な活動増加に伴う8.1百万米ドルが含まれています。レバミピドのフェーズ3臨床実験の開始に関連して大塚製薬から受領したマイルストーン支払い5.0百万米ドル、ならびに製品候補全体の開発費における3.0百万米ドルの増加がかかる増益に寄与しましたが、2011年の収益のうち3.9百万米ドルについて寄与し同年に終了したVCM研究プログラムにおける減益により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよびその他のプログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。その他プログラムを構成するカテゴリは「VCM研究」であり、これは自社臨床開発プログラムとは別個の3年にわたる15.0百万米ドル規模のVCMに関する提携研究プログラムで、エミクススタト契約に基づき大塚製薬から資金提供を受けます。

以下の表は、当社の臨床およびその他のプログラムからの収益を示しています (単位: パーセンテージを除き、千米ドル)。

	12月31日終了年度			
	2011年	2012年	2011年から2012年 にかけての推移	2011年から2012年 にかけての推移 (%)
専有技術	17,779	19,328	1,549	8.7%
インライセンス	12,557	27,096	14,539	115.8%
VCM研究	3,890	-	(3,890)	(100.0)%
計:	34,226	46,424	12,198	35.6%

**専有技術** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムからの収益は、前年の17.8百万米ドルから1.5百万米ドルまたは8.7%増加し、19.3百万米ドルでありました。かかる変化は主に、2012年12月31日現在その立ち上げ業務が進行中であるエミクススタトのフェーズ2b/3実験の準備に向けた開発活動の増加に起因するものでありました。

**インライセンス** 2012年12月31日終了年度において、インライセンス臨床プログラムからの収益は、前年の12.6百万米ドルから14.5百万米ドルまたは115.8%増加し、27.1百万米ドルでありました。かかる変化は主に、2012年7月にフェーズ3臨床実験が開始された結果レバミピド・プログラムに基づく活動が大幅に増加したことに起因するものでありました。レバミピドのフェーズ3臨床実験の開始に関する2012年7月の大塚製薬からのマイルストーン支払い5.0百万米ドルも、当社の増収に寄りました。

**VCM研究** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく3年にわたる15.0百万米ドル規模の提携研究開発プログラムからの収益は存在せず、同プログラムからの収益は2011年12月31日終了年度と比べて3.9百万米ドル減少する結果となりました。同プログラムはエミクススタト契約の条項に従い2011年に終了しました。

## 費用

### 研究開発

2012年12月31日終了年度の研究開発費は総額で約31.6百万米ドルであり、前年の24.2百万米ドルと比べて約7.4百万米ドルまたは30.7%の増加でありました。この増加は、レバミピド・プログラムおよびOPA-6566プログラムにおいてそれぞれフェーズ3およびフェーズ1/2の臨床実験を開始したことに関連する、それぞれ6.5百万米ドルおよび1.2百万米ドルの研究開発費の増加に起因するものでありました。この増加は、社内研究活動における0.6百万米ドルの減少により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト（エミクススタト契約に基づくプログラム）を含む「専有技術」、ならびにレバミピド（最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム）およびOPA-6566（緑内障薬にに基づくプログラム）を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究活動に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています（単位：パーセンテージを除き、千米ドル）。

	12月31日終了年度			
	2011年	2012年	2011年から2012年 にかけての推移	2011年から2012年 にかけての推移 (%)
専有技術	13,285	13,707	422	3.2%
インライセンス	7,756	15,382	7,626	98.3%
社内研究	3,142	2,515	(627)	(20.0)%
計:	24,183	31,604	7,421	30.7%

**専有技術** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムに関する費用は、前年の13.3百万米ドルと比べて0.4百万米ドルまたは3.2%増加し、13.7百万米ドルでありました。かかる変化は主に、エミクススタトのフェーズ2b/3実験の準備に向けた開発活動の増加に起因するものでありました。

**インライセンス** 2012年12月31日終了年度において、インライセンス臨床実験に関する研究開発費は、前年の7.8百万米ドルと比べて7.6百万米ドルまたは98.3%増加し、15.4百万米ドルでありました。かかる変化は主に、レバミピドおよびOPA-6566についてそれぞれフェーズ3およびフェーズ1/2の臨床実験が開始されたことに起因するものでありました。

**社内研究** 2012年12月31日終了年度において、社内研究活動における研究開発費は、前年の3.1百万米ドルと比べて0.6百万米ドルまたは20.0%減少し、2.5百万米ドルでありました。かかる減少は主に、研究実施のために社内の人材および資源の活用を増加させ、かかる取組みの支援のためのアウトソーシング契約への依存度を下げたことに起因するものでありました。

**一般管理費** 2012年12月31日終了年度の一般管理費は、前年の6.2百万米ドルと比べて約1.6百万米ドルまたは26.1%増加し、総額で約7.8百万米ドルでありました。かかる増加は主に、人員の増加および株式ベース報酬の費用を増加させる当社株式の株価上昇に起因する報酬および給付の支出の増加約1.2百万米ドル、ならびに当社の増収の結果としての国および地方の事業および営業税の増加分約0.3百万米ドルによるものでありました。

**法人税ベネフィット (費用)** 2011年には2.5百万米ドルの法人税ベネフィットが計上されたのに対し、2012年には2.6百万米ドルの法人税費用が計上されました。これは、2011年および2012年のそれぞれの実効税率(65.0%)および38.8%を反映したものであります。2012年の米国の連邦法定税率34.0%と当社における実効税率の差は主に、会計上の利益および課税所得の差に起因するものであり、いずれも単体として重要性を有するものではありませんでした。2011年の法定税率および実効税率の差は主に、繰延税金資産に対する評価性引当金の取崩しから生じたベネフィットに起因するものでありました。

### 流動性および資本資源

創業以来、当社は主に転換優先株式および条件付転換債務を発行することにより、また2009年からは営業で生成された現金により営業資金を拠出しています。2007年までの間、当社は転換優先株式の売却により28.2百万米ドルおよび条件付転換債務の売却により12.0百万米ドルの手取金を稼得しました。開発活動に対する大塚製薬からの資金提供および大塚製薬からのマイルストーン支払いの受領により、当社の現金需要は限定的であります。製品開発に内在する不確実性のため、製品候補の開発を完遂するための現金需要を正確に見積もることは困難であります。しかし、当社はかかる費用については開発契約に基づき引き続き大塚製薬から資金提供されると考えています。

当社が有する現金、現金同等物および投資は、2012年12月31日および2013年9月30日現在でそれぞれ23.6百万米ドルおよび21.7百万米ドルでありました。現金および現金同等物は、取得日後3か月以内に満期が到来する、短期の流動性の高いすべての投資を含みます。現金同等物は、マネー・マーケット・ファンド、地方債および社債で構成されます。2012年12月31日および2013年9月30日現在の短期投資はコマーシャルペーパー、社債、預金証書および政府保証債で構成されます。取得日現在の満期が3か月から1年の間である投資は、短期投資に分類されます。第三者金融機関への預金額は、連邦預金保険公社および証券投資家保護公社の適用ある保証上限を超える可能性があります。

当社はまた、1件のリボルビング・クレジットライン・ノート(以下「信用枠」といいます。)に基づく運転資本に対する5.0百万米ドルの信用枠を維持しています。信用枠に対する利息は、(i)銀行が決定する年間変動利率(信用枠において定義される1か月LIBOR+1.25%)または(ii)銀行が決定する年間固定利率(信用枠において定義される適用ある期間の初日に有効であるLIBOR+1.25%)のいずれかに基づき発生し、毎月支払われます。信用枠における元本の残高は、2014年1月20日に支払期限が到来します。2012年12月31日現在または2013年9月30日現在、信用枠における残高はありませんでした。法人クレジット・カード・プログラムに基づき留保される0.4百万米ドルにより、現在の借入可能額は4.6百万米ドルであります。2012年12月31日および2013年9月30日現在、信用枠はそれぞれ約5.8百万米ドルおよび約5.8百万米ドルの制限付投資残高により全額保証されています。

以下の表は、2011年および2012年の12月31日終了年度ならびに2012年および2013年9月30日に終了した9か月間のキャッシュフローの要約を示しています(単位:千米ドル)。

	12月31日終了年度		9月30日に終了した 9か月間	
	2011年	2012年	2012年	2013年
営業活動によるキャッシュフロー	437	11,246	9,984	1,018
投資活動によるキャッシュフロー	(4,093)	(3,743)	(5,568)	(10,912)
財務活動によるキャッシュフロー	(581)	(624)	(409)	(2,173)

### 営業活動によるキャッシュフロー

営業活動により生成された現金および現金同等物は、2011年および2012年の12月31日終了年度においてそれぞれ0.4百万米ドルおよび11.2百万米ドルでありました。2012年の現金流入は主に4.2百万米ドルの純利益から生じ、これが繰延税金資産2.4百万米ドルおよび未収金3.6百万米ドルの減少ならびに買掛金の1.9百万米ドルの減少により一部相殺された未払債務1.3百万米ドルの増加により調整されました。2011年の現金流入は主に6.3百万米ドルの純利益から生じ、未収金の5.2百万米ドルおよび繰延税金資産の2.6百万米ドルの増加により一部相殺されました。

営業活動により生成された現金および現金同等物は、2012年および2013年9月30日に終了した9か月間においてそれぞれ10.0百万米ドルおよび1.0百万米ドルでした。2013年9月30日に終了した9か月間においては、未収金5.1百万米ドルの増加および繰延収益2.6百万米ドルの減少により一部相殺された、5.1百万米ドルの四半期純利益、未払債務1.5百万米ドルの増加および繰延税金2.0百万米ドルの減少の結果として営業活動により1.0百万米ドルが生成されました。2012年9月30日に終了した9か月間においては、現金流入は主に4.1百万米ドルの四半期純利益および大塚製薬による支払金の受領による繰延収益3.2百万米ドルの増加の結果です。

### 投資活動によるキャッシュフロー

2011年および2012年に投資活動に使用された現金（純額）は、それぞれ4.1百万米ドルおよび3.7百万米ドルでありました。かかる変化は主に市場性有価証券の購入（純額）により生じました。

2013年9月30日に終了した9か月間に投資活動に使用された現金（純額）は、10.9百万米ドルであり、主に市場性有価証券の購入（純額）により生じました。2012年9月30日に終了した9か月間に投資活動に使用された現金（純額）は、5.6百万米ドルであり、主に市場性有価証券の購入（純額）により生じました。

### 財務活動によるキャッシュフロー

2011年および2012年に財務活動に使用された現金（純額）は、それぞれ0.6百万米ドルおよび0.6百万米ドルであり、主に当社の新規株式公開に関連する繰延費用で構成されました。

2012年および2013年9月30日に終了した9か月間において財務活動に使用された現金（純額）は、それぞれ0.4百万米ドルおよび2.2百万米ドルでした。かかる変化は、主に当社の新規株式公開に関連する繰延費用の計上によるものです。

当社は、営業からの現金、現金および投資のバランスならびに5.0百万米ドルの信用枠は、当社の継続的営業活動、運転資本、債務の元本および利息の支払い、資本支出ならびにその他の資本需要を少なくとも今後12か月にわたって賄うのに十分であると考えます。当社の将来的な資本需要は、収益の伸び率、研究開発活動の拡大、大塚製薬との提携契約に基づく製品候補の共同販売に関する選択、および大塚製薬との提携契約に基づくマイルストーン達成のタイミングを含む多くの要素に依存します。当社は現在、補完的な事業、アプリケーションまたは技術への潜在的な投資またはその取得に関する一切の契約および合意の当事者となっていませんが、当社はこうした種類の契約を締結する可能性があり、これにより追加的な資本または負債による資金調達が必要となる可能性があります。

**契約上の債務および義務**

以下は2012年12月31日現在の契約上の債務の概要を示したものです (単位: 千米ドル)。

	満期				
	合計	1年未満	1-3年	3-5年	5年超
条件付転換債務 <sup>(1)</sup>	\$ 12,000	\$ 6,500	\$ 5,500	\$-	\$-
条件付転換債務の未払利息 <sup>(1)</sup>	64	56	8	-	-
オペレーティング・リース債務	2,029	923	1,106	-	-
合計	\$ 14,093	\$ 7,479	\$ 6,614	\$-	\$-

(1) 2006年第2四半期において、当社は2009年8月31日満期、年率1.00%、元本3.25百万米ドルの約束手形、2010年6月30日満期、年率1.00%、元本3.25百万米ドルの約束手形および2012年11月30日満期、年率1.00%、元本5.5百万米ドルの約束手形を発行しました。これらの手形はその後書換えられ、とりわけ満期日が異なる延長および利率の変更を伴いました。利息の支払いは、関連する手形の現在の条件に基づき計算されました。約束手形に関する詳細は、「第6 経理の状況 - 1. 財務書類」に含まれる財務書類の注記9をご参照ください。

**共同開発および共同販売オプション**

エミクススタト契約は、当社が北米の当社の担当地域内の国において大塚製薬と共同販売を行う選択権を付与します。当社が共同販売を選択した場合、当社は、かかる契約に基づく一定の義務の25%から50%の範囲で特定の割当における責任を有することとなります。緑内障契約は、当社がOPA-6566を共同開発および共同販売する権利を付与します。当社がOPA-6566を共同開発および共同販売することを選択した場合、当社は、共同開発および共同販売への参加のタイミングおよびその度合いによって10百万米ドルから55百万米ドルの範囲における参加手数料を支払う義務を有することとなります。

当社は現在、エミクススタトに関し共同販売権の行使を意図しています。当社は、共同販売権を行使するタイミングまたはそれに伴い発生する将来の費用について確実な予想をすることができません。緑内障契約もまた、緑内障治療のためのさまざまな臨床および販売目標に基づき、大塚製薬に対する最高75百万米ドルのマイルストーン支払いを規定しています。

**戦略的再編**

2013年10月、当社は、レバミピド契約の終了に伴い、人員削減を含む費用削減計画を発表しました。かかる計画は、当社の全従業員の約35%すなわち約30名の従業員の削減を伴います。

かかる人員削減の結果、当社は、2013年12月31日に終了する3か月間において、退職金、その他の退職手当および再就職支援に関する費用を計上する予定です。

**偶発的に返済される借入金**

エミクススタト契約に基づき、大塚製薬は、純利益およびロイヤリティの支払いにおける当社の持分および関連するエミクススタト化合物およびそのバックアップにおける保有持分のすべて、エミクススタト契約に基づき開発されたそれら化合物のいずれかを含む一定の製剤処方ならびに内在する知的所有権を担保として、当社に対して資金を前払いで提供します。本契約に基づき前払いされる可能性のある資金は、エミクススタト契約に基づく開発費用のうち当社の割当分についてのみ提供されるものです。いかなる借入金も、3か月LIBOR + 3%で利息を発生します。かかる借入金は、以下のいずれかからのみ返済されます。

- ・ エミクススタト契約に記載されるとおり、北米における提携製品の販売により創出される純利益のうちの当社の持分または (適用ある場合) かかる販売に関し当社に支払われるロイヤリティのいずれかの50%。
- ・ エミクススタト契約に記載されるとおり、北米および大塚製薬の単独の販売区域外における提携製品の販売により創出される純利益の50%。
- ・ エミクススタト契約に記載されるとおり、契約に基づき開発される提携化合物および提携製品の北米および大塚製薬の単独の販売区域外における販売またはライセンスにより当社が受領する報酬の50%。

上記のパーセンテージは、当社が、北米におけるエミクススタトを基盤とした製品の初回の商業化から5年以内に借入金を返済しない場合、75%まで引き上げられる可能性があります。当社と大塚製薬との間の取決めに基づく財務制限条項はありません。2012年12月31日および2013年9月30日現在、借入金の残高は、発生した利息を含み、それぞれ16.4百万米ドルおよび25.0百万米ドルでありました。

### 補償

当社の修正再表示済み基本定款は、ワシントン州会社法により認められる最大の範囲において、金銭的損害における当社の取締役の法的責任を制限する条項を含んでいます。当社は、受託者義務違反または取締役もしくは役員としてのその他の不正行為（公募証券に関連する申立を含みます。）を理由とした賠償請求により発生する損害に対し、当社の取締役および役員に対して補償が提供され、また当社の補償義務に基づき、さもなければ法的に当社がそれらの役員および取締役に対して行う可能性のある支払いに関して、当社に対して補償を提供する保険に加入しています（保険契約の制限を条件とします。）。本募集の完了の前に、当社は、当社の各取締役および執行役員との間に、ワシントン州会社法に含まれる特定の補償条項よりも広範な可能性のある損失補償契約を締結する意向です。これらの条項に関する概要は、「第5 提出会社の状況 - 5 . コーポレートガバナンスの状況等 取締役および役員の法的責任の制限および補償」をご参照ください。

### オフバランスシート取引

現在まで当社は、ストラクチャード・ファイナンスまたは特定目的事業体と称され、簿外取引を促進するまたはその他の契約上限られた目的のために設立された非連結事業体との間にいかなる関係または財務上の相互関係も有しておりません。

2011年以降、当社は、開発費用における当社の持分を大塚製薬が提供するエミクススタト契約に基づき、開発費用を共同負担しています（ただし、エミクススタトの商業化から得られる利益（もしあれば）または売上もしくはライセンス収益（もしあれば）から当社が返済を行います。）。2012年12月31日および2013年9月30日までに当社は、上記の契約に基づき、それぞれ約15.4百万米ドルおよび27.0百万米ドルの累積収益を認識しました。2012年12月31日および2013年9月30日現在、偶発的に返済すべき借入金はそれぞれ0.4百万米ドルおよび0.9百万米ドルの利息を発生し、借入金と同様の条件に基づき偶発的に返済される必要があります。

### 米国新規事業活性化法 (JOBS Act)

当社は、米国新規事業活性化法 (JOBS Act) において直近事業年度における収益が10億米ドル未満である企業と定義される新興企業 (emerging growth company) であり、新興企業であり続ける限り、当社は公開会社に適用される様々な報告要件の一定の免除を利用する可能性があります。当該免除には、当社定期報告および代理勧誘状における役員報酬についての開示義務の軽減ならびに役員報酬についての非拘束の勧告的決議要件および事前に承認されていないゴールデン・パラシュート支払いに関する株主承認要件の免除が含まれます。当社は最長5年まで新興企業であることを認められますが、5年の期間の終了前に第三者により保有される当社普通株式の市場価値が6月30日現在で700百万米ドルを超えた場合、翌年の12月31日より新興企業として認められなくなります。

JOBS Actに基づき、新興企業は、新規のまたは改定された会計基準が非公開会社に適用されるまで、かかる会計基準の導入を遅延することができます。当社は、新規のまたは改定された会計基準からの免除を利用しないことを取消不能で選択したため、新興企業ではない他の上場企業と同様に、新規のまたは改定された会計基準に服します。

## 2【生産、受注及び販売の状況】

当社は、研究、開発、前臨床および臨床試験のための医薬品の製造管理および品質管理に関する基準に準拠したエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」といいます。）の製造を第三者機関に委託しており、当社独自の製造体制を確立する予定はありません。エミクススタト契約の諸条件に基づき、次のフェーズ3試験開始以降は、大塚製薬がエミクススタトの製造および供給の責任を有しています。なお、当社は、大塚製薬と合意の上、将来における製剤開発および当社の製品候補の大量生産に備え、第三者製造機関との関係を維持しています。大塚製薬は、OPA-6566製品の製造および供給の責任を有しています。

当社は、将来における製造に関し、いかなる製造業者との間にも契約上の義務を有していないものの、臨床上のおよびいかなる将来の商業生産の必要性に合った、商取引上合理的な条件による複数の製造元が活用可能であると確信しております。

当社は、今後の組織の発展および製品候補の開発の進展に伴い、当社独自の眼科に特化した販売およびマーケティング基盤を確立することにより、販売およびマーケティング活動にも着手していく意向です。当社と大塚製薬との提携戦略の一環として、当社は、当社の製品候補が臨床開発の後期に達した際に、商業化の権利を取得する選択権を確保しております。エミクススタトに関しては、北米において共同販売する選択権を有しております。また、OPA-6566に関しても、米国において共同開発および共同販売する権利を有しております。当社の目標は、当社製品の上市ならびに市場拡大を成功裏におさめるために必要なマーケティングおよび販売活動を実施することです。当社は、かかる目標を達成するために、熟練した販売およびマーケティング専門スタッフを雇用し、必要に応じて第三者への委託も活用する予定です。

当社は、現時点ではまだ上記大塚製薬との提携契約に基づく共同販売に関する選択権を行使していませんが、将来の当社の製品候補の商業化にも対応できる眼科に特化した販売およびマーケティング基盤を確立していく戦略計画を作成中であります。なお、当社は、自社の販売およびマーケティング活動を主に眼科医（および必要に応じて検眼医）に焦点を当てて行う予定です。

### 3【対処すべき課題】

#### 知的財産

当社は、当社が成功するためには強力な特許ポートフォリオが必要不可欠であると考えております。当社は、通常、自社開発品に対する特許申請および導入品に対する特許権の獲得により、パイプライン品目の特許を保護しています。また、特許よりも企業秘密または秘密保持契約による保護がより有利な場合を考慮し、非特許専有技術およびノウハウの保護も重視しています。当社は、現在100件の付与済み特許および213件の申請中の特許出願によりポートフォリオを構築しています。現時点では、米国において10件の特許が既に登録済みまた24件の特許出願を申請中で、また日本においては1件の特許が既に登録済みまた11件の特許出願を申請中であります。以下は、当社の知的財産のポートフォリオの詳細です。

#### 視覚サイクルモジュレーター

視覚サイクルモジュレーター（以下「VCM」といいます。）に基づく当社の主要な製品候補であるエミクススタトに関し、当社は1件の登録済み米国特許（U.S. Patent No. 7,982,071）および7件の申請中の米国特許出願を有しております。当該登録済み特許は2029年頃に存続期間が満了する予定です。米国外では、メキシコ、韓国、オーストラリア、カナダを含む主要各国において合計9件の登録済み特許を所有し、ヨーロッパ諸国ならびに日本、カナダ、ブラジル、中国、チリ、インド、ロシア、台湾およびアルゼンチンを含む国々において約35件の対応外国特許出願を所有しております。これらの特許出願が認められた場合、エミクススタトの物質特許および用途特許が保護され、特許の存続期間は2028年から2033年の間に満了する予定です。

エミクススタトに関するVCM技術に加え、当社は、VCMに関しその他の5件の登録済み米国特許および10件の申請中の米国特許出願を所有しております。米国外では、ヨーロッパならびに日本、カナダ、メキシコ、ブラジル、中国、インド、ロシアおよび台湾を含む国々において17件の付与済み特許ならびに113件の申請中の対応外国特許出願を有しております。これらの特許出願が登録された場合には、当該特許に記載されているVCM化合物の物質特許および用途特許が成立し保護されることとなります。これらの特許は、登録された場合、2028年から2034年の間に存続期間が満了する予定です。

また、大塚製薬の社員によりVCM化合物が発明された場合は、エミクススタト契約の条項に基づき、当社が当該VCM化合物の製造・開発・承認・輸入・販売権を世界中で非独占的に獲得できる全額支払済みのライセンス権を保有しています。このライセンスは、一定の制限の対象とはなりますが、エミクススタト契約が解消される場合を除き取消不能であります。



## OPA-6566

アデノシンA2a受容体アゴニストであるOPA-6566は、大塚製薬が保有している1件の米国特許 (U.S. Patent No. 7,834,002) および大塚製薬が米国特許商標局に追加申請中の2件の特許出願により保護されています。当該登録済み特許は2025年頃に存続期間が満了する予定です。また、2件の出願中の特許が登録された場合、それらの存続期間はそれぞれ2025年頃および2030年頃に満了することとなります。大塚製薬は、登録済み特許の存続期間を最長で5年間延長する権利を有する可能性があります。

当社は、緑内障契約の条項に基づき、OPA-6566に対する共同開発および共同販売権を行使するまで、大塚製薬が保有するOPA-6566に対する特定の特許およびノウハウの米国における非独占的、使用料不要、全額支払済みのライセンス権を保有しています。

## その他の技術

当社は、社内の創薬研究開発の促進およびライセンス活動を通じ、製品パイプラインの拡充・強化に向け積極的に取り組んでいく意向です。

現在当社は、社内の研究開発活動の一環として、早期探査プログラムに対する非公開特許を3件米国特許商標局に申請中であり、

2012年5月、当社は、ReVision Therapeutics社から網膜疾患の治療薬として開発が進められていたレチノール結合型タンパク質アンタゴニストフェンレティナイドおよびその関連化合物に関する眼科領域の知的財産権を取得し、当社の特許ポートフォリオをさらに強化しました。当該フェンレティナイドの獲得の目的は以下の通りです。

- ・ レチノール結合型タンパク質アンタゴニストと当社のVCM化合物とを明確に差別化し、医療関係者ならびに科学関係者にその旨を周知させる
- ・ ドライ型AMDに関する当社の製品候補の主導的地位の向上
- ・ エミクススタットの開発のためにReVision社より取得した機密データおよびノウハウを活用
- ・ 深刻な眼疾患に対する治療法を発見するための当社の能力を強化

## 競争

製薬およびバイオテクノロジー産業は競争が激しく、当社の製品候補は、商業化された場合、現在開発中または既に販売されている薬剤および治療法と競合することになります。また、多数の製薬企業、バイオテクノロジー企業、公立および私立大学、政府機関および研究組織が、当社の製品候補と同じ市場をターゲットとする製品の研究開発を積極的に進めており、これらの組織の多くは、当社よりも一層強固な財務、技術、製造およびマーケティング体制を有しています。さらに、医師はしばしば、既存の薬剤をその添付文書の記載にない、臨床試験や承認申請の際に規制当局の審査対象になっていない適応症に対し処方を行うことがあります。このような未承認のまたは「適応外」の処方、今日の医薬品業界でよく行われており、当社の製品候補にとっても競合となる可能性があります。当社が競争に勝てるかどうかは、以下の能力に大きく依存しています。

- ・ 他の製品より優れた薬剤を創薬し開発する能力
- ・ 優秀な研究者ならびに開発・販売経験のある人材を獲得し維持する能力
- ・ 製品候補およびそれにまつわる技術に関する特許およびその他の知的財産を取得し保護する能力
- ・ 必要とされる薬事規制の承認を取得する能力
- ・ 新規化合物の創薬、開発および商業化において業務提携を成功させる能力

当社の製品候補も、その有効性および安全性、開発期間、価格、有害事象の程度ならびに治療法の指針および利便性など、様々な要因において競合が予想されます。競争に勝つために、他社による競合品に先駆けて開発および承認を取得する必要があります。

## ドライ型AMD

現在、ドライ型AMDに対して米国食品医薬品局 (以下「FDA」といいます。) に承認されている治療薬はなく、また当社は、ドライ型AMDの治療薬として販売されている薬剤の存在も認識しておりません。このような医療ニーズに応えるため、ドライ型AMDを対象とする様々な新規化合物の開発が行われており、将来エミクススタットの競合品となる可能性があります。現在ドライ型AMD治療薬として開発中の製品候補には、神経保護製剤、抗炎症剤、siRNA製剤、補体受容体拮抗薬、その他光受容体および網膜色素上皮細胞の保護をターゲットとする薬剤が含まれます。現在臨床開発中の主要な競合品には、ロシュ・ジェネンティック社の硝子体内注射薬 (lampalizumab)、グラクソスミスクライン社およびファイザー社の静脈注射用抗アミロイド免疫療法薬 (それぞれGSK933776およびRN6G)、MacuCLEAR社の点眼薬として開発中の降圧剤 (MC1101) ならびにPotentia社の補体阻害剤 (POT-4) およびその他の複数の補体阻害剤が含まれます。

## 緑内障

現在、米国において多数の高眼圧症または解放隅角緑内障の患者における眼圧の降下を目的とした治療薬が承認済みまたは開発中であり、将来OPA-6566が承認された場合に競合が予想されます。現在キサランなどのプロスタグランジン製剤およびチモロールなどのプロテクター製剤がもっとも一般的に使用されています。また、既に多数のジェネリック医薬品が出回っており、OPA-6566よりも市場浸透度および価格面で有利である可能性があります。また、これらの承認済の治療薬に加えて、将来OPA-6566の競合品となりうる多数の新薬候補が開発されています。Aerie Pharmaceuticals, Inc. はRhoキナーゼ阻害剤 (AR-12286) のフェーズ3臨床試験を実施しており、Bausch & Lomb社およびNicOx S.A. はEP2受容体アゴニスト (BOL303259X) のフェーズ2臨床試験における肯定的なトプライン結果を発表し、フェーズ3臨床試験を開始しました。その他のフェーズ2臨床試験中の治療薬には、Ophthalix社のアデノシンA3アゴニスト (CF101) およびInotek Pharmaceutical社のアデノシンA1受容体アゴニスト (INO-8875) 等が含まれます。

## 政府およびその他の規制

### 概要

米国およびその他の国の政府当局は、とりわけ医薬品の調査、開発、試験、品質、有効性、安全性 (販売前および販売後)、製造、製品表示、保管、記録、広告、販売促進、輸出、輸入、販売および流通など、幅広く規制を行っています。

### 米国

米国において、FDAは、「連邦食品・医薬品・化粧品法」 (以下「FFDCA」といいます。) ならびにその他の連邦および州の法律および規則に従い医薬品の審査を行っています。当社が適用ある規則を遵守しない場合、政府は、当社の臨床試験の承認拒否もしくは臨床試験差止め、販売申請の承認拒否、当社製品の製造もしくは販売認可の拒否をする場合があり、当社の製品が押収され、差止命令もしくは罰金が課される場合があり、当社が刑事訴追される場合があります。

FDAから新製品に関する承認を取得するため、当社は、とりわけ、安全性および有効性を示すデータならびに製品の製造および組成に関する詳細な情報ならびに製品表示案の提出という要件を満たさなければなりません。データの検証および収集ならびに必要な申請の準備には、費用がかかり多大な時間も必要となります。FDAは、迅速または好意的にこれらの審査を行わない場合があり、当社はFDAの承認を得るまでに著しい困難または出費に直面するかもしれず、それにより当社製品の上市が遅延したり不可能となる場合があります。米国における一般的な医薬品承認プロセスには、以下の事項が含まれます。

- ・ 「医薬品の安全性に関する非臨床試験実施基準」 (「GLP」) 規則に従って実施された、非臨床実験室試験および動物試験ならびに処方設計の完了。
- ・ 人体臨床試験の開始前に効力が生じなければならない新薬臨床試験開始申請 (以下「IND」といいます。) の提出。
- ・ 被験薬の使用目的に応じた安全性および有効性を確立するための、適切かつ十分に管理された人体臨床試験の完了 (当該試験は「医薬品の臨床試験の実施に関する基準」 (「GCP」) 規則にしたがって実施されなければなりません)。

- ・ 新薬承認申請 (以下「NDA」といいます。) または生物製剤承認申請 (以下「BLA」といいます。) の提出。
- ・ 当該製品を製造するための設備について「医薬品の製造管理および品質管理に関する基準」 (以下「cGMP」といいます。) の遵守を評価するためのFDAによる検査に合格すること。
- ・ FDAによるNDAまたはBLAの審査および承認。

フェーズ2臨床試験は、通常、限定された患者集団に対して実施され、特定の適応症に対する許容投与量および適切な投与量の評価、潜在的有害事象および安全性リスクの特定ならびに当該医薬品の有効性の予備評価が行われます。

フェーズ3臨床試験では、地理的に分散した試験場所において、より多くの患者集団に対する臨床における有効性のさらなる評価および安全性のさらなる検証が実施されます。適切かつ十分に管理され同じ結果を伴う2回のフェーズ3臨床試験が完了することが、FDAへの申請書提出前に達成すべき基準です。

FDAは、臨床試験の各フェーズの進行を注意深く監視し、また、臨床試験について蓄積されたデータおよび患者に対するリスクとベネフィットの関係についてのFDAの評価に基づき、FDAの裁量により、試験を再評価、変更、中断または中止することができます。臨床試験の実施に要する期間の合計は、2年から10年まで様々です。高齢患者、小児患者、腎臓機能障害患者などの特定の患者群に対し、追加的な臨床試験が要求される場合があります。

すべての臨床試験の完了後、スポンサーは、製品の化学的性質、製造および管理方法ならびに製品表示案に関する詳細な情報とともに非臨床および臨床試験の結果を記載したNDAを提出します。また、スポンサーが患者に対するリスクとベネフィットの関係を証明する詳細な記述を提出することも重要です。「処方薬ユーザー・フィー法」 (以下「PDUFA」といいます。) に従い、申請者は高額かつ毎年増加する手数料を支払わなければなりません。2013年度の当該手数料額は2百万米ドルです。

FDAは、NDAの予備審査を行い、60日以内に申請能力の決定を下します。申請が受理されると、FDAは、NDAの詳細な審査を実施します。PDUFAに基づき、FDAは審査の完了およびアクションレターの発行について通常審査には10か月および優先審査には6か月をそれぞれ要します。PDUFAの目標期限の最後の3か月間にFDAが追加の情報を要求した場合またはスポンサーが重要な新しい情報もしくは提出書類において提供済みの情報に関する説明を提出した場合、審査プロセスが3か月延長されることがあります。

FDAによるNDAの評価ならびに臨床および製造手順ならびに設備に関する監査/査察が良好であった場合、FDAは承認通知または承認可能通知のいずれかを発行することができます。承認可能通知には、最終承認のために満たさなければならない条件が記載されます。かかる条件がFDAを満足させた場合、FDAは、提案された適応症に関する当該医薬品の商業販売を認める承認通知を発行します。FDAによるNDA申請の評価ならびに臨床および製造手順ならびに設備に関する監査/査察が良好でなかった場合、FDAはNDAの承認を拒絶し承認不可通知を発行します。

### ファスト・トラック指定

FDAの「ファスト・トラック」プログラムは深刻なまたは命にかかわる症状の治療を対象とし、また、満たされていない医療ニーズに対応する可能性を示す、医薬品の開発促進および審査の迅速化を目指すものであります。ファスト・トラック指定により、FDAは、NDA申請の完了前にNDAのセクションの審査を開始することができます。このいわゆる「逐次審査」は、申請者が残りの情報の提出スケジュールを提供し、NDAが認めた場合でかつ申請者が適用あるユーザー・フィー (半額を申請時に、残りの半額を承認時に支払わなければなりません。) を支払った場合に利用することができます。FDAによるPDUFAに基づく審査期限は、完全な申請書が提出されるまで起算されません。また、ファスト・トラック指定は、当該指定が新たに得たデータによって支持されないかまたは当該指定を受けた開発プログラムがもはや遂行されていないとFDAが判断した場合、FDAにより撤回される場合があります。

## その他の規制上の要件

リスク評価・リスク緩和戦略 (以下「REMS」といいます。) 最近成立した2007年FDA改革法 (以下「FDAAA」といいます。) において、医薬品の安全使用を確保するため薬物に特異的なREMSを要求する権限をFDAに付与しました。REMSが必要であるかの判断にあたり、FDAは、当該医薬品を利用する可能性が最も高い患者群の規模、治療される疾病または症状の深刻さ、当該医薬品の予想されるベネフィット、治療の期間、既知のまたは可能性のある有害事象の深刻さおよび当該医薬品が新しい化学物質であるかについて考慮しなければなりません。REMSが必要であるとFDAが判断した場合、スポンサーは承認時にREMSプランを提案しなければなりません。REMSには、治療ガイドもしくは患者用添付文書、医療従事者に対する当該医薬品のリスク教育のためのコミュニケーション計画、当該医薬品を処方もしくは調剤できる者の制限または当該医薬品の安全使用を確保するために必要とFDAがみなしたその他の方法など、様々な要素が含まれます。

FDAAAはまた、医薬品承認後にFDAが適切であるとみなした場合に、承認後研究および臨床試験を要求するFDAの権限を拡大しました。かかる研究の目的は、当該医薬品に関する既知の深刻なリスクもしくは深刻なリスクの兆候を評価すること、または有効なデータによって深刻なリスクの可能性が示された場合に予期されていない深刻なリスクを特定することです。FDAはまた、薬品の製品表示に記載すべきであるとFDAが確信する新たな安全情報を認識した場合、製品表示の変更を要求する場合があります。

**特許権の回復および排他的販売権** 当社の製剤候補の使用に関するFDA承認のタイミング、期間および細目によっては、当社の製品候補を保護する米国特許のいくつかは「1984年薬品価格競争および特許期間回復法」(ハッチ・ワックスマン法)に基づく上限付きの特許期間延長の対象となります。ハッチ・ワックスマン法では、製品の開発中およびFDAによる法定審査手続中における特許期間の喪失に対する補償として、5年を上限とする特許権の回復期間が認められています。ただし、特許期間の回復は、製品の承認から起算した特許残存期間が合計14年を超えてはならないとされています。特許の回復期間は、通常、INDの効力発生日からNDAまたはBLAの提出日までの期間の半分の日数にNDAの提出日からその承認までの日数を加えた期間です。将来、当社は、予想される臨床試験の期間および関連する申請書の提出に関係するその他の要因により、現在当社が所有する特許またはライセンスを保有する特許に現在の満了日を超える特許存続期間を加えるため、特許期間の回復申請を行う意向です。

FFDCAに基づく排他的販売条項もまた、一定の申請の提出または承認を遅延させる可能性があります。FFDCAにおいて、新規の化学物質に関するNDAの承認を獲得した最初の申請者に対し、米国における5年間の非特許独占販売権を規定しています。FDAが以前に、当該医薬品成分の作用に関する分子またはイオンである同一の活性部分を持つその他の新規医薬品を承認していない場合、その医薬品は新規の化学物質となります。排他期間中、FDAは、略式新薬承認申請 (Abbreviated New Drug Application) (以下「ANDA」といいます。) または申請に必要なすべてのデータを所有していない場合もしくは参照する法的権利を有さない場合にかかる医薬品の別バージョンとして他の会社が提出した505(b)(2)新薬承認申請の審査を受け付けない場合があります。ただし、申請書に特許の無効性または特許を侵害しないことに関する証明書が含まれる場合、4年後に当該申請書を提出することができます。FFDCAはまた、申請者により実施されたまたは申請者がスポンサーである新規の臨床研究 (生物学的利用試験を除きます。) が当該申請の承認に不可欠であるとFDAがみなした場合、NDA、505(b)(2)新薬承認申請または承認済NDAの補完に対する3年間の排他的販売権を認めています。かかる3年間の排他的権利によって保護されるのは、新規の臨床研究に関連する諸条件のみであり、FDAが先発の活性薬剤を含む医薬品に関するANDAを承認することを禁止するものではありません。5年間および3年間の排他的権利は完全なNDAの提出または承認を遅延させることはありません。ただし、完全なNDAを提出する申請者は、安全性および有効性を実証するための前臨床試験および適切かつ十分に管理された臨床試験のすべてを参照する権利の行使または権利の取得が求められる場合があります。

**市販後要件** 当社が承認済みの製品の販売を続けるために満たさなければならない市販後安全調査要件があります。当該製品の有害事象はFDAに報告しなければならず、また製品表示の変更または製品の撤去による販売制限を課される場合があります。法的要件の遵守が維持されない場合または製品の安全性および/または有効性に関する問題が承認後に発生した場合、製品の承認が撤回される場合があります。FDAはまた、その裁量により、承認済製品の効果の監視のために市販後試験および調査を要求することができまたはかかる製品の商業的応用を制限する可能性のある承認上の条件を設定することができます。

製品広告および市販後製品の販売促進に関し、FDAは多数の複雑な規制を課しています。かかる規制には、消費者への直接販売のための広告、適応症外の販売促進、業界出資による科学および教育的活動ならびにインターネットに関連する販売促進活動に関する基準が含まれますがこれらに限定されません。FDAは、FFDCAに基づく非常に広範な強制権限を持ち、これらの規制の不順守は、FDA基準からの逸脱を是正するためのスポンサー宛の警告書の発出、将来的な広告および販売促進資料に対するFDAの事前許可取得の要求ならびに州および連邦における民事ならびに刑事の事件調査および起訴などを含む、罰則の対象となることがあります。

当社の製品を製造する設備は、cGMPの遵守を維持しなければならず、またFDAによる定期的な査察の対象となっています。法令上および規制上の要件を遵守できない場合、製造者は、警告書、製品の押収またはリコール、差止め、製造作業の大幅な制限または停止を決定する同意判決ならびに民事および刑事処罰などの実行可能な法的措置および規制措置を受けます。

### 外国における規制

外国の規制制度は国によって様々ですが、米国におけるFDA規制に関連するリスクと類似のリスクが含まれます。

欧州連合の規制制度の下では、医薬品の承認申請は、中央審査手続または分散型審査手続のいずれかによって行われます。中央審査手続では、EMAに対する1回の申請により、欧州連合域内（現在27加盟国）における当該製品の販売を許可する欧州委員会の承認を得ることができます。新規化学物質、バイオテクノロジー医薬品および希少疾患医薬品ならびにAIDS、がん、糖尿病および神経変性疾患、自己免疫疾患、その他の免疫機能不全ならびにウイルス性疾患の治療用製剤については、中央審査手続が義務付けられています。有意な治療を構成する製品、科学的もしくは技術的革新となる製品または欧州連合の地域レベルにおいて患者にとって有益な製品についても、この手続によることができます。当社の製品は有意な治療、科学的または技術的革新を構成する製品として、また、新規化学物質である製品として、この手続によることが適切である可能性があります。当社がこの手続をとる場合、EMAに対し申請書提出日の18か月前に適格性を証明する必要があります。

分散型審査手続は、国単位の承認決定に対する相互承認を規定しており、中央審査手続の要件に該当しない製品について利用されます。分散型審査手続では、欧州連合内の1つの加盟国における国内販売承認の保有者は、欧州連合内の他の加盟国に対し追加の申請書を提出することができます。申請者は当該販売承認を保有する国により提供された審査報告書に基づく先の承認を認証することを要求されます。

### 第三者負担者補償および償還

当社のいずれの製品候補も何らかの適応症に関する商業化はなされていませんが、それらの販売が承認された場合、当社製品候補の商業的成功は、メディケアおよびメディケイドのような米国の州および連邦プログラムならびに民間の健康保険プログラムなどの第三者負担者から補償および償還の利用可能性に一部依存する場合があります。メディケアは、主に65歳以上の者または身体障害者で社会保障給付を受ける資格のある個人のため、連邦が出資および管理する健康保険プログラムです。メディケイドは、低所得者向けに医療扶助を提供するため州政府および連邦政府により共同で出資された健康保険プログラムです。一般に、プログラム参加者は薬物治療の費用の全額または一部について払戻しを受ける権利を有します。メディケアおよびメディケイドを含む政府支払人プログラム、民間の健康保険会社ならびに管理型医療プランは、個別の治療または薬物治療に関する補償および償還額を制限することにより費用を抑えようとするものであります。連邦議会および州議会は、随時、費用抑制を目指す取組みについて提案および採択を行っています。医療費全体の低減を目的とした連邦および州政府の現在の取組みは、医療制度改革、処方箋調剤費用ならびにメディケアおよびメディケイドの支払システムの改革に引き続き焦点を合わせていくと見られます。以下は、米国における医薬品の補償および償還における制限が医薬品に対する支払いを将来的にどのように減少させるかの例です。

- ・ メディケアからの償還方法の変更。
- ・ 処方集に記載される医薬品の決定の変更。
- ・ メディケイドプログラムに基づく医薬品払戻し額計算方法の改正。
- ・ 医薬品輸入法令の改正。

第三者負担者のうちいくつかは、新規のもしくは革新的な装置による治療または薬物治療を使用する医療提供者への支払前に、それらの治療に対する補償の事前承認も取得しなければなりません。いずれの医療費低減案が採用されるかまたは将来実行されるかについて当社は予測できませんが、これらの案の公表または採用により当社の医薬品候補に対する適切な価格を得る能力および利益の出る経営を行う能力に重大な悪影響が及ぶ可能性があります。

#### 4【事業等のリスク】

下記のリスク要因における将来の見通しに関する記述は、本書提出日における判断に基づいています。

##### **当社の事業および産業に関連するリスク**

**当社は商業販売の承認を受けた製品を有していません。**

今日に至るまで、当社において製品収益は発生しておらず、当社株式および負債証券の私的売却、ならびに大塚製薬との提携契約、特に当社がエミクススタト契約と称するエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」といいます。）の開発および商業化に関する共同開発および提携契約により事業資金を賄っています。当社は、単独でまたは第三者と、商業的可能性のある医薬品の開発および規制当局の承認の取得ならびに販売に成功しない限り、製品候補により収益を受け取ることはありません。当社はこれらの活動において成功せず、事業を継続するに足る収益を挙げるできない可能性もあります。

**大塚製薬との提携による研究開発活動からの収益およびエミクススタト契約に基づく開発費用の当社負担分についての大塚製薬による資金提供は、2012年12月31日終了年度および2013年9月30日に終了した9か月間における当社の全収益に該当し、これらの収益の喪失は当社事業に対し悪影響を及ぼします。**

大塚製薬との提携契約に基づく研究開発活動からの収益は、2011年および2012年ならびに2013年9月30日に終了した9か月間における唯一の収益源であり、今後とも当社業績において重大な影響を及ぼすものと予測されます。後述するとおり、最近、大塚製薬は当社がインライセンス臨床プログラムにより2011年および2012年ならびに2013年9月30日に終了した9か月間において重要な収益を得ていた共同開発契約を解除しました。提携パートナーとしての大塚製薬、ならびに大塚製薬のために行う研究開発活動およびエミクススタト契約に基づく開発費用の当社負担分についての大塚製薬による資金提供から生じる収益を代替するのは困難であります。

従って提携パートナーとしての大塚製薬またはその他のプログラムによる収益の喪失は、当社事業に重大な悪影響を及ぼします。さらに、提携パートナーとしての大塚製薬を失うことが公表された場合、当社の評判を害する可能性があります。これに加え、当社が大塚製薬から独立してエミクススタトを商業化することに成功した場合における、開発資金の大塚製薬への当社の返済義務は、他の提携パートナーを引き付け維持することを困難にし、将来の提携パートナーに対する交渉力を弱める可能性があります。大塚製薬は、重大な契約違反もしくは債務超過、窪田氏による当社CEOの辞任、当社の支配権の変更、またはエミクススタト契約の場合、フェーズ2またはフェーズ3臨床試験の結果の検討後における大塚製薬による開発費用提供不継続の決定等、様々な場合において、当社との提携契約を比較的短期間の事前通知により終了することができます。またエミクススタト契約の場合、理由のいかんを問わず、6か月の事前予告により契約を終了することができます。大塚製薬との各提携契約における解除権の詳細については、「第2 企業の概況 - 3. 事業の内容 - 大塚製薬との提携」をご参照ください。

さらに、当社製品候補の開発に関する大塚製薬の関心は、経営陣、優先事項または戦略的焦点の変更により、当社のそれと異なる可能性があります。例えば、2013年9月に、大塚製薬は、米国でのフェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由により、米国におけるドライアイ症候群治療のためのレバミピドの共同開発に関する当社との契約を解除しました。その結果、関連する臨床試験は中断され、当社の開発活動は中止されました。大塚製薬の支援および専心を失うことは、当社製品候補の開発および商業化に悪影響を与えます。大塚製薬が当社とのその他の提携契約を解除し、または他の理由により開発費用の資金提供もしくはその他の製品候補の開発の継続を行わない場合等において、当社の収益および業績は損害を被り、当社は事業を縮小または停止しなければならない可能性があります。

**当社の長期展望は当社の製品候補に依存しており、これらが臨床実験、規制承認または商業化において成功するという確証はありません。**

当社は、眼科的適応症のための、開発段階にある2つの主要製品候補を有しており、時間および財源の大部分を、当社内部で開発されたVCM化合物から発生した主たる製品候補であるエミクススタトの開発に投資しています。VCMは新たな技術であり、その長期的影響は不明であります。従って当社の製品候補が規制承認を取得することができるの保証はありません。臨床開発は長期、高額、かつ不確実なプロセスであり、遅延が生じるものであります。また臨床実験を完了するために十分な数の被験者を適時に確保できないために、遅延または申請拒否が生じる可能性もあります。製品候補の試験を完了するためには数年を要し、多大な資源の支出が必要となる可能性があり、また試験のすべての段階において失敗が生じます。例としては、以下のものが考えられます。

- 臨床および非臨床研究の中間結果は、その最終結果を予想させるものではなく、初期研究における許容可能な結果は後の研究においてはみられない可能性もあります。これは主に、初期段階の研究は後期の研究に比較し少人数の被験者を対象としていること、また無作為コントロールならびに被験者の長期フォローアップおよび分析といった後期研究と同様の実験設計の特徴を有していないことに起因します。
- 開発の初期段階においては有望に見える製品候補であっても、製品候補が効果的でない、競合他社の製品もしくは製品候補より効果が弱い、または有害な副作用が生じる等複数の理由により最終的に失敗する可能性があります。
- 臨床または非臨床試験が米国食品医薬品局 (以下「FDA」といいます。) または外国の規制当局にとって満足のいく結果を生まない可能性があります。

- 臨床または非臨床データについては多様な解釈がありえ、規制承認を遅延、制限または阻害する可能性があります。
- 非臨床研究もしくは臨床実験からの否定的もしくは決定的でない結果、または臨床実験中の有害医療事象は、プログラムに関連した他の研究または実験が成功していたとしても、非臨床研究もしくは臨床実験を繰り返させ、またはプログラムを終了させる可能性があります。
- 被験者が疾病または負傷について非合理的かつ重大なリスクにさらされている、またはさらされる可能性がある等認められる等の理由が存在する場合、FDAは実験について臨床保留命令を発することができます。
- 当社が医薬品を開発する期間または規制当局に対する承認申請の審査期間中における、規制当局の方針変更により、遅延または申請拒否に直面する可能性があります。
- 当社の臨床実験は、いずれの製品候補についても安全性・有効性を示さない可能性があり、また市場性のある製品にならない可能性があります。

将来において臨床実験および試験が成功したとしても、臨床実験を完了しFDAによる承認のため新薬承認申請（以下「NDA」といいます。）を提出するプロセスは数年を要し、多額の資金の支出が必要となるものと考えられます。製品候補について当社が現在想定している以上の追加的な臨床実験もしくはその他の研究の実施を要求され、当社が臨床実験もしくはその他の研究を成功裏に完了することができず、またはこれらの実験もしくは研究の結果が肯定的でないもしくはあまり肯定的でない場合、当社の製品候補の販売承認は遅延し、またはこれを取ることができない可能性があります。さらに、当社は販売承認を取ることができないか、当社が意図した広範な適応症に対する承認を取ることができない可能性があります。試験または承認において遅延が生じた場合にも当社製品の開発費用は増加します。大幅な臨床実験の遅延は、当社に先んじて競合他社が製品を市場に送り出すことを許し、当社が製品を商業化する能力を害する可能性があります。

**将来において臨床実験が成功したとしても、当社が提携契約の下、最善の商業化戦略を追求しない場合、当社の成長展望は悪影響を受け、事業を縮小または停止する必要性が生じる可能性があります。**

当社の提携戦略の一環として、当社は、製品候補が開発後期に到達した段階において商業化の権利を取得するか、または製品販売からロイヤリティを受領するかについて選択権を保持するようにしています。当社の大塚製薬との提携契約において、当社は排他的共同販売権を有しています。当社がこれらの権利を行使しない場合、当社はエミクススタットの純売上高についてはロイヤリティを受領する権利を有し、OPA-6566の商業化に基づくロイヤリティまたはその他の支払いについての権利を有しません。一般的に、当社は将来の売上高および費用ならびにその他の情報による予想に基づき、臨床実験の完了前にこれらの権利の行使について意思決定を行わなければなりません。当社が選択する商業化戦略は、当社が有する他の商業化戦略と比較し最終的に利益が少ない可能性があり、これは当社の成長展望を害し、事業の縮小または停止を生じさせるおそれがあります。当社は、将来の売上高および費用を正確に予測することができない、または権利行使料およびマイルストーン支払いを支払うことができない等の複数の理由により、最善でない結果を生じさせる商業化戦略を選択する可能性があります。

エミクススタットについてのライセンスを大塚製薬に付与すると当社の決定は、当社がもはやエミクススタットがどのように開発され商業化されるか、および市場においてそれがどのように認識されるかについて完全な支配を有さないことを意味します。当社がエミクススタット契約の条項に基づき共同販売を選択しない場合、当社はそれがどのように商業化されるかについて、さらに支配を失う可能性があります。これに加え、当社がOPA-6566に関する共同販売権を行使しない限り、かつこれを行なうまで、当社はこの製品候補がどのように開発され商業化されるかにつき、限られた支配しか有しないか、支配を全く有しません。また当社がこれらの製品候補について商業化権を行使したとしても、当社は部分的に当社製品候補を商業化する大塚製薬の努力に依存することとなり、当社はこれらの製品候補の商業化についてのいくつかの重要要素について支配を有さないこととなります。大塚製薬は、当社のプログラムを自己の事業において重要であるとみなさない、十分な資源を有していない、または必要な資源を充てないことを決定した等を含む、複数の理由により当社の製品候補の効果的な商業化に失敗する可能性があります。



**医薬品市場は競争が非常に激しいものであります。当社がいずれかの製品候補について承認を取得することに成功したとしても、既存の医薬品、新たな治療法および新たな技術に対して効果的に競争することができない可能性があります。**

医薬品市場は競争が非常に激しく、また急激に変化しています。多くの大規模製薬会社およびバイオテクノロジー会社、学術機関、政府機関ならびにその他の公的および私的研究機関が、当社が対象としているまたは対象とすることを予定しているものと同一の適応症について新たな治療法の開発を追求しています。

糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫についてエミクススタが承認された場合、現在唯一のFDA承認済み糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫治療法であるジェネンテック社のLucentisと競合することが予想されます。緑内障の治療については多くの医薬品および治療法が承認されており、承認されたとすれば、OPA-6566はこれらと競合することとなります。当社はAMD (ドライ型AMDを含む。)、糖尿病性網膜症/糖尿病性黄斑浮腫および緑内障の治療のための現在開発中の複数の新薬およびその他の治療法を認識しています。そしてそれらには、最大規模の製薬会社によるこれらの各疾病区分についての複数のものが含まれます。競合する治療法または製品および開発中の治療法の一覧については、「第3 事業の状況 - 3 . 対処すべき課題 - 競争」をご参照ください。

当社の競合他社の多くは、以下を有しています。

- ・ 製品の発見、開発、製造および商業化の各段階において、当社よりはるかに大きな資金的、技術的および人的資源
- ・ 医薬製品の非臨床試験、臨床実験の実施、規制承認の取得、製造およびマーケティングについて、より幅広い経験
- ・ 試験済みまたは受け入れられた技術に基づく製品候補
- ・ 承認済みまたは開発の後期段階にある製品
- ・ 当社のターゲット市場における、大手企業および研究機関との提携契約

当社の競合者は、当社より先に同一適応症について特許権保護の取得、FDA承認の受領、または医薬品の商業化に成功する可能性があります。当社の競合医薬品は、当社の開発するいずれの製品よりも効果が高い、またはより効率的にマーケティングおよび販売される可能性があります。さらに、医師はしばしば、製品のラベルに表示されておらず、臨床研究において試験され、FDAまたは他国における類似規制当局により承認されたものとは異なる用法のため治療法を処方することがあります。これらの認可外または「オフ・ラベル」使用は医療専門家の間では一般的であり、当社製品候補の潜在的競争対象となりえます。競合する治療法には外科治療や医療機器が含まれ、当社が開発する医薬製品を、その開発および商業化費用を回収できる前に、旧式の、または競争力のないものとしてしまう可能性があります。

**エミクススタおよび将来当社が開発するその他の製品の市場受け入れは限定されたものである可能性があります。**

当社がFDAまたは他の規制当局より販売商品を取得する製品の商業的成功は、医療コミュニティおよび医療費の第三者負担者によりこれらの製品が、臨床上に有用であり、費用対効果が高く、安全なものであるとして受け入れられることにかかっています。仮に潜在的製品が望ましい有効性および安全性特性を臨床実験において示したとしても、製品の市場受け入れは、商業化が行われてみなければ判明しません。当社が開発する製品の多くは、市場にとり新しいメカニズムに基づくものであると予想されます。たとえば、エミクススタはフェニルアルキルアミン系の小分子化合物であります。今日に至るまで、そのような小分子化合物が医薬品としてFDAに承認された例はありません。結果として、当社製品、特に当社が最初に市場に投入する製品について、市場受け入れを得ることはより困難である可能性があります。医療コミュニティに対するこれらの潜在的な新アプローチについての周知努力には、試験済みまたは受け入れられた技術に基づいた承認について通常必要になるのと比較し、より多くの資源を必要とする可能性があります。

**当社が計画する販売およびマーケティング機能の構築は、多大な資源を必要とし、当社が期待する利益を生じさせない可能性があります。**

大塚製薬との契約に基づく商業化の機会を活用するため、および当社の長期戦略の一環として、当社は、製品候補の商業化のための専任の販売およびマーケティング・インフラを構築するため、販売およびマーケティング人員を雇用する予定であります。当社は、特に十分な数の眼科専門家に当社製品を処方するようアクセスを提供し、またはこれを説得するため、この直接の販売チームに頼ることとなります。仮に当社が、適切な技術的および販売に関する専門性を有する販売およびマーケティング人員を雇用し維持することに成功しなかった場合、またはそれらを支援するために十分な流通機能を構築することができない場合、製品収益を生み出す当社の能力は悪影響を受けます。また独立した販売、マーケティングおよび流通機能構築に関連した予期しない費用および経費の存在は、当社製品候補のマーケティングおよび商業化に悪影響を及ぼす可能性があり、当社の事業、業績および財務状態に悪影響を及ぼします。当社が販売、マーケティングおよび流通機能を費用効率のよい形で構築することができる、当該投資に対しプラスの利益を実現することができる、またはこれらの機能を独立して構築することが第三者提供者の利用に比較して望ましいという保証はありません。米国または米国外において、製品候補のマーケティング、販売または流通について内部資源を使用することができない、または使用することを選択しない限度において、当社は大塚製薬のような提携パートナーまたはライセンサーに頼る予定です。当社はそのような関係を構築または維持できない可能性があります。マーケティング、販売および流通について、提携パートナーまたは第三者に依存する限度において、当社が受領するいずれの収益も彼らの努力に依存することとなります。このような努力は成功しない可能性があり、当社は当社ライセンサー、提携者または第三者が当社製品に対して投入する資源の量およびタイミングを支配することができません。

加えて、当社が米国外において承認された製品のマーケティング、販売または流通について、そのような関係を利用する限度において、当社は知的財産権保護の低下、予期しない関税、貿易障壁および規制要件の変更、インフレーションといった経済的脆弱性、または特定の外国経済および市場における政情不安、源泉徴収および所得税を含む外国の課税、外国為替の変動等、国際的な事業関係を結ぶことに関連する追加的なリスクに服することとなり、結果として事業費用を増加し収益を減少させ、また他国における事業活動に起因するその他の義務を生じさせる可能性があります。

**当社は製品候補ポートフォリオの拡大努力において成功しない可能性があります。**

当社は内部開発および医薬品またはバイオテクノロジー企業とのパートナーシップにより製品候補のポートフォリオ拡大を追求しています。

当社の内部研究プログラムの大部分が、未実証技術に関連するものです。新たな対象疾病および製品候補を特定するための研究プログラムは、それが最終的に候補の特定につながるか否かに関わらず、かなりの技術的、資金적および人的資源を必要とします。当社の研究プログラムは、初期においては潜在的な製品候補特定の見込みを示したとしても、以下を含む複数の理由により、臨床開発のための製品候補を生み出さない可能性があります。

- ・ 使用された研究手法は、潜在的製品候補の特定に成功しない可能性があります。
- ・ 更なる研究により、潜在的製品候補には有害な副作用が存在する、または効果的な医薬品とはならないことを示唆する特性があることが示される可能性があります。
- ・ 当社の製品候補および技術について、知的財産権を獲得することができない可能性があります。

また当社は製品候補のライセンスまたは取得を試みる可能性があり、複数の理由によりこれを行うことができない可能性があります。特に、医薬製品のライセンスおよび取得は競争的な分野です。複数のより有名な企業も、眼科的分野の製品のライセンスまたは取得の戦略を追求しています。これらの有名企業はその規模、現金資源ならびにより優れた臨床開発および商業化能力を有することにより、当社に対して競争上の優位性を有しています。当社による適切な製品候補のライセンスまたはその他の取得を阻害するその他の要因としては、以下のものが挙げられます。

- ・ 当社が製品について適正な利益を上げることのできる条件で当該知的財産権をライセンスまたは取得することができない可能性があります。
- ・ 当社を競合者とみなす企業は、その製品の権利を当社に譲渡またはライセンスすることに否定的である可能性があります。
- ・ 当社は、当社の専門分野内における適切な製品または製品候補を特定することができない可能性があります。

**第三者製造者に対する依存は、当社の臨床実験および製品導入を遅延させる可能性があります。**

当社の製品候補製造の経験は限られており、また当社はこのための専用の施設を有していません。また当社は当面臨床実験または商業化目的のための製品候補製造用施設を開発する予定はありません。当社は提携契約に基づき、製品候補の製造および供給について大塚製薬に依存することとなります。また大塚製薬は臨床実験のための製品候補について、大塚製薬および当社との協力のもと、その製造を第三者製造者に外注しています。当社製品候補の製造については、競争的供給者が存在する可能性が高いものの、新たな契約締結は遅延および追加的支出を生じさせる可能性があり、これらは確実性をもって見積もることができません。

医薬品製造には内在的なリスクが存在し、これは第三者製造者が当社の要求を充たす能力に影響する可能性があり、結果として使用不可能な製品を生じさせ、当社開発プロセスおよび当社臨床実験に遅延を生じさせる可能性があります。当社は、FDAによる医薬品の製造管理および品質管理に関する基準（以下「cGMP」といいます。）および外国規制主体の類似の要件を継続的に遵守できる製造者と契約を締結する必要があります。製品候補につき必要な規制承認を得た場合、商業生産に必要な原料の生産について、提携パートナーを含む第三者に依存することが予想されます。十分な製造能力の取得および維持について困難が生じる場合、製品を成功裏に開発し商業化する当社の能力は悪影響をうける可能性があります。

第三者製造者が適時に義務を履行しない場合、または適切な文書を伴う形でcGMPの確立および遵守を行わない場合、臨床実験、製品候補の規制承認取得、または最終的な当社製品の市場への導入に大幅な遅延を生じさせる可能性があります。これらの失敗は、遅延やその他の問題を生じさせ、結果として当社の事業、財務状態および業績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。理由のいかんにかかわらず、当社が製造者を変更しなければならぬとすれば、当社は多大な費用を被り、また新たな製造者が品質基準ならびに適用あるすべての規制およびガイドラインを遵守した施設ならびに手続きを維持しているか検証するため、多大な時間を費やす必要が生じる可能性があります。

**当社は当社の経営陣、特に当社の創業者であり最高経営責任者である窪田良氏に依存しており、主要な経営陣および科学者を維持しその意欲を引き出すことができない場合、当社の医薬品開発プログラムは遅延する可能性があり、成功裏に製品候補を開発または商業化することができない可能性があります。**

当社は、当社の執行役およびその他の主要な人員、特に当社の創業者であり最高経営責任者である窪田良氏の継続的な役務提供に依存しており、同氏は大塚製薬との提携継続および日本の機関からの資金を確保する上で必要不可欠であります。当社の提携チームのメンバーが大塚製薬と構築した関係により、窪田氏および多くの提携チーム・リーダーを含む提携チームの多数が当社により継続的に雇用されることに当社は特に依存しています。加えて、当社の大塚製薬との提携契約は、窪田氏が当社の最高経営責任者の役職を離れた場合、または大塚製薬との提携に積極的に関与することを怠った場合等において、大塚製薬により終了される可能性があります。

当社が新たな製品候補を開発し商業化する権利を取得するにつれ、当社の成功は、これらの新たな製品候補の開発を管理する、高い能力を有する経営陣および科学者を惹きつけ、維持し、その意欲を引き出す能力にかかっています。当社は経験豊かな科学者ならびにその他の技術的および専門的人材について、複数の企業ならびに学術およびその他の研究機関からの競争に直面しています。当社が製品候補の開発および商業化に必要なとする技能および専門知識を有する人材が数少ないワシントン州シアトル地域において、高い能力を有する人材に対する競争は特に激しいものがあります。当社の経営実績および資本資源の限られた臨床段階バイオテクノロジー企業であるということに伴う不確実性は、人材を惹きつけ維持する能力を制限する可能性があります。

窪田氏ならびに当社の各主要経営陣および科学者は、当社との雇用契約をいつでも解消できます。当社がいずれかの主要経営陣を失うとすれば、当社または大塚製薬にとって適切な代替人材を見つけることができない可能性があり、結果として当社の事業は損害を被ります。加えて、当社が許容可能な条件で当社事業の継続的發展に必要な有能な人材を継続的に惹きつけ維持することができないとすれば、経営を維持または成長することができなくなる可能性があります。

**将来における当社の人員削減は、当社の継続的な従業員のパフォーマンスに影響を及ぼす可能性があり、主要な職員による役割の維持を困難にする可能性があります。**

2013年10月、当社は、従業員の削減を伴う業務の再編を2013年12月より開始することを決定しました。かかる削減は、事業の全ての機能に対して影響を及ぼします。従業員の削減によって、雇用保障または生産性の低下に関する懸念が生じる可能性があり、結果として、残存する当社の従業員が新たな雇用先を希望する、または当社が後任者を雇用しなければならなくなるにつながる可能性があります。また、かかる従業員の削減は、当社の事業経営をより困難にし、将来における従業員の誘致を一層難しくする可能性があります。

**当社が開発する製品のいずれかが、第三者による還付金制度、好ましくない価格規制または医療改革イニシアチブの対象となる場合、当社の事業は損なわれるおそれがあります。**

政府およびその他の医療サービスの第三者負担者による還付金の存否および水準は、当社の潜在的製品の市場に影響します。これらの負担者は、医薬製品およびサービスについて請求される金額を争うことにより、継続的に医療費の抑制または低減を図っています。米国においては、潜在的な製品に対する支払いについてマネージドケア機構を含む民間保険会社およびメディケア・プログラムの承認を得る必要があります。当社の将来的な製品候補について還付金が認められるとの確証がなく、認められたとしても還付金の金額は当社の将来的な製品の需要または価格を低下させる可能性があります。

政府およびその他の医療サービスの第三者負担者の承認取得は、多大な時間と費用を要する過程となりえます。当社の製品候補は開発中であるため、現時点において還付金の水準または方法について判断することができません。当社の製品候補について、メディケアまたは民間保険会社より適時かつ満足のいく内容の還付金の承認を得ることができない場合、当社の事業は重大な悪影響を受ける可能性があります。メディケア・プログラムは特定の医薬品に対する適用を、メディケア受給者にとり「合理的および必要的」ではないとして否定する可能性があります。適用制限は、地域のメディケア保険会社の段階または財政仲介人により課される可能性があります。メディケア・プログラム、地域のメディケア保険会社または財政仲介人がそのような判断を行い、当社の潜在的製品について還付金を、該当する場合その取扱い手続きを含め、否定または制限するとすれば、当社の事業に重大な悪影響が生じる可能性があります。またマネージドケア機構を含む民間保険会社、メディケア・プログラムまたはその他の還付主体または負担者が、当社の潜在的製品について還付される適応症を制限した場合にも、当社の事業は悪影響を受ける可能性があります。

米国および外国管轄において、医療の利用可能性を拡大するとともに、その費用の抑制または低減を目的とする立法および規制案が提示されてきており、今後も同傾向が継続するものと考えられます。当社は将来において採用される可能性のある施策を予測することはできません。これらの立法および/または規制改正は承認後に医薬製品の還付金にマイナスの影響を及ぼす可能性があり、従って当社が利益性をもって製品を販売する能力に影響を与える可能性があります。政府およびその他の医療サービスの第三者負担者による、医療費抑制および削減のための継続的努力は、以下について悪影響を及ぼす可能性があります。

- ・ 当社が規制承認を得る可能性のある医薬製品についての需要
- ・ 当社の製品候補について当社が公正であると考えられる価格を設定する能力、または還付率を実現する能力
- ・ 当社の収益性および利益率
- ・ 当社が支払うことを要求される課税水準
- ・ 当社の資本へのアクセス

**当社の商業化目標を達成するため、当社の組織規模を拡大する必要がありますが、当該成長の管理において当社は困難に直面する可能性があります。**

当社の商業化計画および戦略が展開するにつれ、当社は経営、運営、販売、マーケティング、財務、人事およびその他の機能分野において従業員数を拡大する必要があります。これらの従業員に対する競争は激しく、当社は適時かつ合理的な条件で有能な人材を追加的に雇用することができない可能性があります。将来の成長は経営陣に大幅に拡大した責任を課すものであります。これらには追加的人員の採用活動、雇用、維持、意欲促進および統合を含みます。また当社経営陣は、不相応な注意を日々の事業活動から割いてこれらの成長活動管理に多大な時間を費やさなければならない可能性もあります。当社の将来的な財務成績ならびに当社製品候補の商業化および効果的に競争する能力は、部分的に、将来の成長を効果的に管理する能力に依存することとなります。

**当社は製造物責任請求のリスクに直面し、これに対する保険を取得できず、多大な偶発債務を負う危険にさらされる可能性があります。**

当社の事業は、医薬品および関連製品の開発、製造、試験および販売に内在する製造物責任請求のリスクにさらされています。当社製品のひとつまたは複数の使用が人を害する場合、当社は高額かつダメージの大きい製造物責任請求の対象となる可能性があります。当社は、当社の臨床実験を年次総額10百万米ドルまで補償する製造物責任保険に加入しています。当社は、開発するいずれかの製品について販売承認を得ることができた場合、その商業製品の販売を含めるよう被保険対象を拡大していく所存であります。保険はますます高額となっており、保険に入れるとしても、その補償は、合理的な条件ではない可能性があります。当社は潜在的な債務に対し、十分な保護を取得または維持することができない可能性があります。当社が潜在的な製造物責任請求に対し、許容できる費用により保険を取得するか、またはその他の方法により潜在的な製造物責任請求に対し保護することができない場合、当社は多大な債務にさらされることとなり、当社事業および財務状態に重大かつマイナスの影響が生じる可能性があります。

## 規制リスク

**当社は、当社の開発努力から生じる、エミクスラストおよびOPA-6566を含むいずれの製品についても規制承認を得ることができないおそれがあります。これらの承認を得られないことは、当社事業に重大な損害をもたらす可能性があります。**

当社が開発する、または将来開発しうる全製品は、追加的な研究または開発を必要とします。当社は臨床実験が行われる段階に至った2つの製品候補を有しています。当社製品候補のいずれも米国における規制当局の販売承認を得ておらず、当該承認受領の失敗は当社事業に重大な損害を与える可能性があります。当社は米国において人間を対象とした新たな臨床実験開始に先立ち、新薬臨床試験開始申請の承認を受ける必要があります。米国における当社製品の商業化を行う前に、販売承認を取得するため、NDAを行う必要があります。同プロセスは高額なものであり、高度に不確実かつ多大な時間を要するものであり、承認されとしても、多くの場合米国における製品の販売承認には数年を要します。承認方針または規制は変更される可能性があります。FDAおよび外国におけるその他の類似規制当局は医薬品の承認プロセスにおいて大幅な裁量を有し、以下を含む理由により製品候補の承認を遅延、制限または拒否することができます。

- ・ 当社、大塚製薬または将来的な開発パートナーの臨床実験の設計または実施について、当該当局の見解が相違する可能性があります。
- ・ 当社、大塚製薬または将来的な開発パートナーが、製品候補が安全であり効果的であること、またはその臨床およびその他の利益が安全性リスクを上回ることをFDAまたは他の規制当局が満足する程度に示すことができない可能性があります。
- ・ 医療標準が潜在的に米国と異なる臨床施設または国において行われた実験の臨床データを当該当局が認めない可能性があります。
- ・ 臨床実験の結果が当該当局が承認のため要求する安全性または有効性を示さない可能性があります。

- ・ 臨床前研究または臨床実験のデータについて当社の解釈、または現在の医薬品候補の前提となった抗体研究結果の使用について、当該当局が当社と見解を相違する可能性があります。
- ・ 当社、大塚製薬または将来の開発パートナーが臨床および商業目的原料供給のため契約する第三者製造者の製造過程または施設において、当該当局が不備を発見する可能性があります。
- ・ 当該当局の承認方針または規制方針が大幅に変更され、当社、大塚製薬または将来的な開発パートナーの臨床データが承認には不十分なものとなる可能性があります。

外国市場については、承認手続きが国により異なり、前述のリスクに加え、追加的な製品試験、行政審査期間および価格規制当局との合意を要する可能性があります。さらに、販売されている特定の医薬品の安全性に関して疑義を生じさせる事象の発生は、新医薬品審査において安全性、有効性およびその他の規制上の検討事項の観点からFDAおよび外国におけるその他の類似規制当局をより慎重にならしめ、結果としてこれらの規制承認取得に大幅な遅延が生じる可能性があります。該当する規制承認の取得の遅延、またはこれを取得できないことは、当社、大塚製薬または将来の開発パートナーによる当社製品候補の商業化を阻害するおそれがあります。

当社製品候補の開発を完成するためには、当社はいくつかの技術的な課題に効果的に対応しなければならない可能性があります。初期臨床実験における成功は後期臨床実験における成功を意味しません。なぜなら後期臨床実験における製品候補は、初期臨床試験を経ているにもかかわらず、十分な安全性または有効性を示さない可能性があるからです。企業は、初期臨床実験において有望な結果が見られたにもかかわらず、後期臨床実験においてしばしば大幅な後退に苦しむことがあります。さらに、当社の製品候補は、効果的でない、わずかに効果的であるに過ぎない、または望ましくないもしくは意図しない副作用、毒性もしくは規制承認取得を妨げ、もしくは商業的使用を阻害もしくは制限する可能性のある特徴を有する可能性があり、当社の事業に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。従って、FDAおよびその他の規制当局が当社が開発する製品を承認すると保証はありません。

**ドライ型黄斑変性（地図状萎縮）についてのエミクススタトの開発の「ファスト・トラック」指定は、実際にはより迅速な規制審査または承認プロセスにつながらない可能性もあります。**

医薬品が重篤なまたは生命にかかわる病状の治療を目的としており、かつ医薬品が同病状について満たされていない医学的ニーズに対応することのできる見込みがある場合、医薬品スポンサー会社はFDAの「ファスト・トラック」指定を申請することができます。ファスト・トラック分類は製品のみにも適用されるのではなく、製品およびその研究対象である適応症または複数の適応症の組み合わせについて適用されます。FDAのファスト・トラック・プログラムは、臨床開発ならびにファスト・トラック適応症または複数の適応症についての医薬品の安全性および有効性の審査を円滑化するためのものであります。ファスト・トラック開発対象の製品のスポンサーによるNDAまたは販売承認申請は、FDAの方針または手続きに基づき、迅速審査の要件を満たす可能性があります。ファスト・トラック指定はそのような要件の充足を保証するものではありません。当社はドライ型黄斑変性（地図状萎縮）の治療についてエミクススタトのファスト・トラック指定をFDAより取得したものの、通常のFDAの手続きに比較して、より迅速な開発プロセス、審査、または承認が実現するとは限らず、当社としては、承認されるとしても、FDAの承認は少なくとも数年かかるものと予測します。当社のファスト・トラック指定は、指定が当社の臨床開発プログラムのデータよりもはや支持されないとみなされた場合には、FDAにより撤回される可能性もあります。当社のファスト・トラック指定は、当社が迅速手続きの要件を充足する、またはそれを利用できることを保証するものではありません。

**当社の製品が承認された場合において、当社が規制要件の遵守を怠った、または製品について問題が発生した場合、当社製品は規制または市場からの回収の対象となり、また当社は処罰の対象となる可能性があります。**

当社が販売承認を取得するいずれの製品についても、FDAおよび他の規制主体による継続的な要件、審査および定期検査の対象となります。製品について規制承認が得られたとしても、承認は製品を市販可能な用途としては、表示される用法についてのみ認められるといった制限に服する可能性があります。また承認は、多額の費用を要する、製品の安全性および有効性を監視するための、販売開始後の試験および検査についての条件または要件を含む可能性があります。当社製品、製造者もしくは製造過程についての未知であった問題の事後的な発見、または規制要件遵守の懈怠は、以下の結果をもたらします。

- ・ 任意または強制リコール
- ・ 製品の市場からの回収
- ・ 当該製品または製造プロセスにおける制限
- ・ 罰金
- ・ 規制承認の停止
- ・ 製品の没収
- ・ 差止命令または民事もしくは刑事罰の執行

既存の規制要件に対する変更または新たな規制要件または方針の採用について、当社の対応には時間を要する、または対応できない可能性があります。

**外国管轄における規制承認取得の失敗は、当社が米国外において製品を販売することを阻害します。**

当社および大塚製薬は、それぞれの排他的テリトリーにおいて、エミクススタトを販売することができます。外国管轄においてエミクススタトを販売するためには、当社または大塚製薬は、別個の規制承認を取得する必要があります。数多くの多様な規制要件を遵守する必要があります。承認手続きは国により異なり、追加的な試験および文書が必要となる可能性があります。取得に要する時間もFDAの承認を取得するために要する時間と異なる可能性があります。外国における規制承認手続きは、FDA承認取得に関連するリスクのすべてを含む可能性があります。当社は外国における規制承認を取得することができたとしても、適時に取得できない可能性があります。FDAによる承認は他国における規制当局による承認を保証するものではなく、また外国における一規制当局による承認は他国における規制当局またはFDAによる承認を保証するものではありません。当社および大塚製薬は、規制承認のための申請を行うことができない可能性があります。またいずれの市場においても当社製品を商業化するために必要な承認を得ることができない可能性があります。これらの承認取得の失敗は、当社事業、財務状態および業績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。

**知的財産および他の法的事項に関連するリスク**

**当社製品に関連する知的財産の専有性の保護のための努力が十分でない場合、当社は市場において効果的に競争することができない可能性があります。**

バイオテクノロジーおよび医薬品分野における特許の強度は、複雑な法的および科学的問題が絡んでおり、不確実性を有しえます。当社製品候補のいくつかに関連する大塚製薬より取得した権利に加え、当社は製品候補について当社が保有する、特許、特許出願および営業秘密を含む知的財産に依存しています。当社の特許権の詳細については、「第3 事業の状況 - 3 . 対処すべき課題 - 知的財産」をご参照ください。当社の特許出願については異議を申し立てられる、もしくは特許権取得に至らない可能性があります。また当社の既存または将来の特許は、第三者がこれらの特許を迂回して開発もしくは設計することを防止するには狭すぎる可能性があります。さらに同事項については統一された世界的な方針が存在するわけではなく、医薬品特許について認められる請求の範囲および世界における特許権付与について特許当局により適用される基準は必ずしも予測可能または一定ではありません。

一般的に、当社が申請またはインライセンスする特許が認められる保証はなく、当社が保有する特許が有効かつ異議申立に対し対抗可能であるとの保証もありません。第三者がその有効性、強制力または範囲について異議を申し立て、結果として当該特許は狭められるまたは無効となる可能性があります。加えて、当社は提携契約の違反または終了により、当社がライセンスする特許または特許出願に対する権利を失う可能性があります。また製造者は、ライセンスされた関連特許の消滅前に、当社製品候補のジェネリック版について販売承認の取得を試みる可能性があります。当社がライセンスを受ける、製品候補に関連した特許による保護の幅および強度の十分性が脅かされる場合、当該事実は他者に、当社の他の製品候補についてその開発に関する当社との提携を断念させ、または当社が商業化する能力を脅かす可能性があります。さらに、臨床実験において遅延が生じ、またはその他の事由により開発活動が妨げられる場合、特許の保護のもと当社が製品候補を販売できる期間は短縮されます。製品について一度特許期間が満了した場合、当社はジェネリック医薬品会社からの競争に服する可能性があります。

**当社がその専有情報およびノウハウの秘密性を保護できないとすれば、当社の技術および製品の価値は悪影響を受ける可能性があります。**

当社は特許を取得することができない特定の専有ノウハウ、特許の強制が困難であるプロセス、ならびに特許出願の対象となっていない専有ノウハウ、情報および技術に関わる、エミクススタットおよびその他の製品候補に関する開発プロセスのその他の要素の保護のため、営業秘密保護および秘密保持契約に頼っています。当社は当社施設の物理的セキュリティならびにITシステムの物理的および電子的セキュリティを維持しているものの、セキュリティ措置は破られるおそれがあり、当社の専有情報およびノウハウの秘密性を保護するための十分な救済策を有していないおそれがあります。また当社のシステムおよび外部バックアップ措置は自然災害またはその他の予期せぬ事象によるダメージや侵害に対して脆弱である可能性があります。

当社は当社の専有ノウハウ、情報および技術にアクセスを有するすべての従業員、コンサルタント、アドバイザーおよび第三者に対して、秘密保持契約の締結を要求していますが、当該ノウハウ、情報および技術が開示されない、または競合他社がその他の方法により当社の営業秘密に対するアクセスを取得しない、もしくは独立して実質的に同等の情報および技法を開発しないとは限りません。これらの契約は終了または違反される可能性があり、当社は当該終了または違反に対して十分な救済策を有しない可能性があります。さらに、他国の法律には米国法と同程度には財産権を保護しないものもあることから、当社が米国外において事業を展開する限度において、これらの契約は未承認使用または開示の場合において、当社の営業秘密およびノウハウの有意義な保護を提供しない可能性があります。加えて、当社が提携パートナーを含む第三者から専有ノウハウ、情報または技術をライセンスする限度において、当社は当該専有ノウハウ、情報および技術保護のための方針採用および実施について第三者に頼ることとなります。

**知的財産侵害に関する第三者からの請求は、エミクススタットおよび当社の他の製品候補に関連した当社の発見、開発および商業化努力を阻害または遅延する可能性があります。**

当社の商業的な成功は、部分的に、第三者の特許および財産権侵害の回避にかかっています。当社は第三者から、専有技術を承認なく利用していると主張される可能性があります。現時点において当社はエミクススタットに関連した知的財産侵害に関する訴訟もしくはその他手続きまたは第三者による請求について認識していませんが、バイオテクノロジーおよび医薬品産業は、特許およびその他の知的財産権についての膨大な訴訟により特徴づけられます。当社は第三者から、当社の活動がその特許を侵害している、または当社が専有技術を承認なく使用していると主張される可能性があります。当社は、当社製品を商業化する能力を阻害し、当社もしくは当社のライセンサーの製品のひとつまたは複数の側面についてその特許可能性を妨げ、または当社製品を販売する能力に影響を及ぼす同一もしくは類似技術を対象とすることにより、当社の事業に影響する可能性があるすべての特許、特許出願または既刊の文献のすべてを特定していない可能性があります。加えて、第三者は将来的に特許を取得し、当社製品候補または技術の使用は当該特許を侵害する旨主張することが考えられます。さらに、当社に対して請求を行う当事者は、当社の製品候補のひとつまたは複数について更なる開発または商業化を行う当社の能力を効果的に阻害しうる、差止命令による救済または衡平法上の救済を取得する可能性があります。これらの請求に対する防御は、その請求の正当性にかかわらず、多額の訴訟費用を発生させることとなり、当社事業から従業員資源を大幅に割かなければならないこととなります。当社による侵害の主張が認容された場合、当社は多額の賠償金を支払わなければならない、一つもしくは複数のライセンスを第三者より取得もしくはロイヤリティを支払わなければならない、または当社製品候補および技術の更なる開発もしくは商業化を禁止される可能性があります。



**当社の特許および当社ライセンサーの特許を保護または強制するため、当社は訴訟に関与する可能性があり、多額の費用、多大な時間が必要となる可能性があり、また敗訴する可能性もあります。**

競合他社は、当社の特許および当社ライセンサーの特許を侵害する可能性があります。当社が当社財産権について第三者に依存する限度において、当社は当該権利保護および防御について制限された支配のみを有することとなります。侵害および未承認使用に対抗するため、侵害に関する請求を提起する必要性が生じる可能性もあり、これには多額の費用および多大な時間が必要となる可能性があります。加えて、侵害訴訟において裁判所は、当社または当社ライセンサーの特許は有効でないもしくは強制可能でない旨判断する可能性があり、または当社の特許が問題となる技術を含まないとの理由により、他方当事者に問題となる技術の使用を中止させることを拒む可能性があります。訴訟または防御手続きにおける不利な結果は、当社の一つまたは複数の特許を無効とする、または解釈を狭めるリスクを生じさせ、また当社の特許出願が特許発行に至らないリスクを生じさせます。

当社の特許および特許出願または当社の提携者もしくはライセンサーのそれらに関して、発明の優先性を決定するため米国特許商標局による抵触審査が必要となる可能性があります。不利な結果により、当該技術の使用の停止、または勝訴当事者からそれに関する権利のライセンスを試みる必要となる可能性があります。訴訟または抵触審査において当社は負ける可能性があり、勝利したとしても多大な費用を生じさせ、当社経営陣および他の従業員の業務を阻害する要因となりえます。

さらに、知的財産訴訟においては大量の開示が必要となるため、同種の訴訟における開示により当社の秘密情報が害されるリスクが存在します。加えて、審理、申立てまたはその他の中間的な訴訟手続きもしくは展開について公表がある可能性があります。証券アナリストまたは投資家がこれらの結果を否定的にとらえた場合、当社の普通株式の価格に重大な悪影響を及ぼしえます。

**当社が有害または生物物質を、傷害を生じさせるまたは適用法に違反する態様により使用した場合、当社は賠償義務を負う可能性があります。**

当社の研究開発活動は、化学および生物物質を含む、潜在的に有害な物質の管理された使用を要します。加えて、当社の事業は有害な廃棄物を発生させます。米国における連邦、州および地方法令は有害物質の使用、製造、保管、取扱いおよび廃棄について定めを設けています。当社の当該物質の使用、取扱い、保管および廃棄の手続きは法に規定された基準を遵守するものであると考えますが、将来的に適用法を遵守するため多額の追加費用の負担を被る可能性があります。また当社が適用法を遵守していたとしても、有害物質による汚染または傷害のリスクを完全に排除することはできず、当社は当該汚染または傷害の結果賠償責任を負う可能性があります。事故が発生した場合、当社は賠償責任を負う、または罰金を科される可能性があり、債務は当社の資産を超過する可能性があります。当社は有害物質から生じる債務についての保険を有していません。適用ある環境法令の遵守は多額の費用を要するものであり、現在または将来の環境規制は、当社の研究、開発および生産努力を害するおそれがあります。結果として当社の事業、業績および財務状態を損なう可能性があります。

## 当社の財務結果および資金需要に関するリスク

**当社の過去の業績は、将来の収益性または成長を示すものではない可能性があり、当社は収益性または成長の維持または増加を継続することができない可能性があります。**

2013年9月30日現在、当社は2.6百万米ドルの累積赤字を有しており、これは2002年の起業から、大塚製薬との最初の2つの提携契約が締結した2008年の終わりまでに発生した純損失に起因します。2008年9月より、大塚製薬との提携契約に基づく研究開発活動からの収益が、当社の唯一の収益源でありました。2011年下半年より、大塚製薬はエミクススタット契約に基づく開発費用の当社負担分について資金提供を開始しており、当社はこれらの借入金を財務書類において収益として計上しています。当社は、将来エミクススタット契約に基づく製品の商業化から生じる収益がある場合に、その一部から、これらの借入金に利息を加えて返済する条件付き義務を負います。財務状態および経営成績の詳細については「第3 事業の状況 - 7. 財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析」をご参照ください。将来において、当社は近時に達成した収益性を維持することができない可能性があり、追加的な損失を被るおそれがあります。当社は、公開会社となることに関連して、多大な追加的事業費用を被ることが予測されます。また当社の事業費用は、事業成長の追求に伴いすべての分野において継続して増加していくものと予測されます。当社の収益が増加しない場合、当社の業績は悪影響を受けることとなります。当社の収益および純利益の近時の成長率は、将来の成長率を示すものと解されるべきではありません。

**当社の業績は将来的に変動する可能性があり、これにより当社の株価は下落する可能性があります。**

当社の四半期および年次の業績は、様々の理由により将来的に変動する可能性があり、その理由の多くは当社の支配の及ばないものであります。当社の収益（もしあれば）および当社の業績は以下を含む複数の要因の影響を受けます。

- ・ 当社製品候補の開発の状況および特に提携契約に基づき当社が支払うまたは受領するマイルストーン支払いのタイミング
- ・ 期間内において大幅に変動しうる臨床費用の負担
- ・ 当該期間における提携の予測困難な影響
- ・ 適用ある規制要件の充足のタイミング
- ・ 当社臨床開発および他の内部開発努力拡大の速度
- ・ 競合する技術および製品の影響ならびに市場の発展
- ・ 一般のおよび産業特有の経済状態

当社の業績が投資家または証券アナリストの期待を下回る場合、当社の普通株式の価格は大幅に下落するおそれがあります。さらに、当社業績およびキャッシュフローの変動は、当社の株価を大幅に変動させる可能性があります。当社は、当社の過去の財務結果の比較は必ずしも意義を有するものではなく、将来の業績を示すものとして依存されるべきではないと考えます。

**当社は追加的な資金を必要とする可能性があり、その取得が難しい可能性があります。必要な資金調達の失敗またはこれを不利な条件で行うことは、当社の開発プログラムおよび他の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。**

2013年9月30日現在、当社は21.7百万米ドルの現金、現金同等物および投資を有し、21.6百万米ドルの運転資本を有していました。当社が有する現金、現金同等物および投資は、本募集からの手取り金、エミクススタット契約に基づく大塚製薬による開発費の当社負担分についての資金提供および利息収入と併せて当社の将来的な運転資本および資本支出需要を充足するに足るものであると当社は現在考えています。しかし、当社の将来的な運転資本および資本支出需要は以下を含む多くの要因に依存しています。

- ・ 製品候補の開発および商業化に関する当社の大塚製薬との提携における成功
- ・ 臨床実験の範囲および結果
- ・ 他の製品候補の開発に向けた進捗
- ・ 他の製品または技術の潜在的取得またはライセンス

- ・ 規制承認取得のタイミングおよび関連する費用
- ・ 製造活動の費用
- ・ 製品のマーケティング、販売および流通を含む、商業化活動の費用
- ・ 特許請求の準備、申立て、遂行、維持および強制に関する費用ならびに訴訟費用を含むその他の特許関連費用ならびに当該訴訟の結果
- ・ 追加的な提携契約を成立させ維持する当社の能力

追加的な資金は当社が必要とする時点において取得できない可能性があり、または有利な条件で取得できない可能性があります。当社が十分な資金を適時に取得できない場合、当社は開発、ライセンスまたは取得プログラムの一つまたは複数を経営を縮小しなければならない可能性があります。当社は、そうでなければ独自のものとして追求したであろう当社の技術、製品候補または製品の一部についての権利の放棄を要する内容を含む、提携者またはその他の者との契約を通じて資金を調達しなければならない可能性があります。当社が株式発行により追加的な資金調達を行う場合、同時点における既存の株主には希薄化が生じることとなり、新たな株式の内容は当社の普通株式に優先するものとなりえます。

**当社は「新興企業」であり、新興企業に適用される軽減された財務報告義務要件にのみ従うとの当社の決定は、投資家にとっての当社株式の魅力を増加させる可能性があります。**

当社は米国新規事業活性化法 (JOBS Act) に定義される新興企業 (emerging growth company) であり、新興企業であり続ける限り、当社は公開会社に適用される様々な報告要件の一定の免除を利用する可能性があります。当該免除には、当社定期報告および委任状勧誘における役員報酬についての開示義務の軽減ならびに役員報酬についての非拘束の勧告的決議要件および事前に承認されていないゴールデン・パラシュート支払いに関する株主承認要件の免除が含まれます。当社は最長5年まで新興企業であることを認められますが、5年の期間の終了前に第三者により保有される当社普通株式の市場価値が6月30日現在で700百万米ドルを超えた場合、翌年の12月31日より新興企業として認められなくなります。当社がこれらの免除に依拠することを選択した場合、投資家が当社の普通株式をより魅力的でないものと判断するかを予測することはできません。将来の開示を軽減する選択の結果として、一定の投資家が当社の普通株式をより魅力的でないものと判断した場合、当社普通株式についての取引市場はより不活発なものとなり、当社株価はより不安定となる可能性が高くなります。

新規事業活性化法の下では、新興企業は、新規のまたは改定された会計基準の採用を、当該基準が非公開会社に適用される時まで遅らせることができます。当社は、新規のまたは改定された会計基準からの免除を利用しないことを撤回不能な形で選択しました。従って当社は新興企業でない公開会社と同様の新規のまたは改定された会計基準に服します。

## 市場リスクに関する定量および定性的開示

### 金利および信用の質に関するリスク

当社は、2012年12月31日現在および2013年9月30日現在のそれぞれの残高が16.6百万米ドルおよび4.6百万米ドルである現金および現金同等物、残高が11.9百万米ドルおよび20.2百万米ドルである短期投資、ならびに残高が0.8百万米ドルおよび2.7百万米ドルである長期投資について、金利の変動に関する市場リスクおよび信用の質に関するリスクにさらされています。特に当社の投資は主に短期市場性有価証券であることから、当社の主たるエクスポージャーは、米国における一般的な金利水準の変動による影響を受ける、金利収入に対する感応度から生じます。当社投資ポートフォリオが短期であり、また低リスク・プロファイルを有することから、10%の金利の急激な変化は当社ポートフォリオの公正市場価値に重大な影響を及ぼしません。従って、当社の有価証券ポートフォリオについての市場金利の急激な変動の影響により、当社業績またはキャッシュフローに大幅な影響が生じることは予測されません。当社の投資方針は、投資対象を高信用格付けのものに限定することにより、信用の質のリスクを最小限にとどめるよう構築されています。

## 5【経営上の重要な契約等】

下記に記載される取引は、以下の条件を満たすものであり、2010年1月1日以降の状況について記述しています。

- ・ 当社が参加しているまたは参加する予定であり、
- ・ 関連する金額が120,000米ドルを超えたまたは超える取引であり、かつ
- ・ 当社の取締役、執行役員もしくは当社資本金の5%超の保有者のいずれかまたはそれらの個人の近親者もしくはそれらの個人と家計を共有している者が、直接または間接的に重要な持分を保有しているもしくは保有する予定の取引。

### 大塚製薬との取引

**大塚製薬との提携** 当社は、当社の5%以上の資本金の実質所有者である大塚製薬との間の開発契約における当事者となっています。これらの提携の詳細については、「第2 企業の概況 - 3 . 事業の内容 - 大塚製薬との提携」をご参照ください。

**大塚製薬との取決め** 大塚製薬は、エミクススタット契約に基づき、当社に資金を融資しています。本契約に基づき、開発費用における当社の持分に対してのみ、資金が提供される可能性があります。大塚製薬は、2011年下半年から開発費用における当社の持分の資金の提供を開始しました。2013年9月30日までに、大塚製薬は、本契約に基づき24.5百万米ドルを提供しました。借入金は、融資日における3か月LIBOR+3%の利率で利息が発生します。当社は、大塚製薬との間に担保契約を締結しており、当社の純利益およびロイヤリティの支払いにおける当社の持分および関連する提携化合物および提携製品における保有持分のすべてならびに内在する知的所有権を、大塚製薬からの借入金を保証するための担保として提供しています。2012年12月31日現在の元本総額の残高は16.0百万米ドルであり、2013年9月30日現在の残高は24.6百万米ドルでありました。当社は、これらの借入金に対するいかなる利息または元本も支払っていません。かかる借入金は、以下のいずれかからのみ返済されません。

- ・ エミクススタット契約に記載されるとおり、北米における提携製品の販売により創出される純利益のうちの当社の持分または(適用ある場合)かかる販売に関し当社に支払われるロイヤリティのいずれかの50%。
- ・ エミクススタット契約に記載されるとおり、北米および大塚製薬の単独の販売区域外における提携製品の販売により創出される純利益の50%。
- ・ エミクススタット契約に記載されるとおり、契約に基づき開発される提携化合物および提携製品の北米および大塚製薬の単独の販売区域外における販売またはライセンスにより当社が受領する報酬の50%。

上記のパーセンテージは、当社が、北米におけるエミクススタットまたはバックアップ化合物を基盤とした製品の初回の商業化から5年以内に借入金を返済しない場合、75%まで引き上げられる可能性があります。

### SBIとの条件付転換債務

2006年5月に、当社は、日本の金融サービスグループであり投資ファンドも管理するSBIグループの4つの事業体に対して、元本総額12百万米ドルの条件付転換債務を発行しました。これらのSBI関連事業体およびその他のSBI関連事業体は、合計で当社の資本金の5%以上を保有しています。これらの債務は、当社の支配権の変更を伴う取引、当社の実質上すべての資産の売却、または本募集の完了に関連し、シリーズC優先株式に転換されます。これらのシリーズC優先株式は、本募集の完了において、当社の普通株式に転換されます。これらの債務は、2011年および2012年の複数回にわたり延長され、結果として、とりわけ、複数の満期日および利率の変更を伴いました。詳細は、「第6 経理の状況 - 1 . 財務書類」に含まれる財務書類の注記9をご参照ください。

各条件付転換債務についての元本金額、満期日、2012年1月以降に支払われた利息、2013年9月30日現在の残高は、以下のとおりであります。

(単位:米ドル、%)

保有者	元本	現在の利率 (%)	満期日	2012年1月以降に 支払われた利息	2013年6月30日現 在の残高
SBIバイオ・ライフサイエンス投資事業有限責任組合	\$ 5,500,000	0.94	2014年2月28日	\$ 358,329	\$ 5,564,281
SBIブロードバンドファンド1号投資事業有限責任組合	2,015,010	0.84	2014年8月31日	19,143	2,031,922
SBIピービー・モバイル投資事業有限責任組合	624,840	0.84	2014年8月31日	5,936	630,081
SBIフェニックス1号投資事業有限責任組合	610,150	0.84	2014年8月31日	5,796	615,273
SBIピービー・メディア投資事業有限責任組合	3,250,000	0.84	2014年6月30日	30,875	3,277,267
<b>合計</b>	<b>\$12,000,000</b>				<b>\$12,118,824</b>

条件付転換債務の残高はすべて、本募集完了時に転換され、当社の普通株式3,636,364株になります。

#### コンサルティング関係

当社は、当社の取締役のひとりであるピーター・クレセル氏との間における、2014年1月2日まで役務を提供する旨を定めたコンサルティング契約の当事者となっています。クレセル氏は、2010年、2011年および2012年において、コンサルティング・サービスおよび本契約に基づく費用の払戻しとしてそれぞれ218,000米ドル、217,000米ドルおよび216,000米ドルを受領しました。クレセル氏は当社のコンサルタントとして、FDAへのNDA登録申請ならびに戦略の立案およびFDAとのコミュニケーション対応に関するコンサルティング業務を提供しております。また、当社と大塚製薬との共同開発委員会においても、戦略的アドバイスおよび事業支援を必要な際に提供しています。このようにクレセル氏は、経営を監督する社外取締役としての立場とは明確に役割が異なる業務を遂行していることから、当社は同氏との間でコンサルティング契約を締結しました。同契約に基づき、2013年5月31日まで、月々18,000米ドルの料金によるコンサルティング・サービスに対する報酬を受領しました。なお、2013年6月1日以降は、予測される拘束時間および責任範囲の増加により、月々30,000米ドルの料金によるコンサルティング・サービスに対する報酬を受領しています。

#### 執行役員に対する貸付金

窪田氏との雇用契約に基づき、窪田氏は、2010年1月1日から2012年12月31日まで、合計113,782株の当社普通株式を、総額626,000米ドルで購入しました。普通株式の支払いとして、窪田氏は、適用ある株式により担保される元本総額626,000米ドルの償還請求権付約束手形を当社に譲渡しました。窪田氏の雇用契約の条件に基づき、当社は、2010年、2011年および2012年において、かかる手形についてそれぞれ551,000米ドル、18,000米ドルおよび57,000米ドルの返済を行いました。これらの返済に関連し、当社は、かかる手形の返済に関し窪田氏により支払われる追加的税金を相殺するために、同氏に対して総額359,000米ドルを支払いました。窪田氏の雇用契約に関する詳細は、「第5 提出会社の状況 - 5 . コーポレート・ガバナンスの状況等 - (1) コーポレート・ガバナンスの状況 役員報酬 - 報酬の概要 - 2012年エクイティ・アワード」および「役員報酬 - 役員雇用契約 - 窪田良」をご参照ください。

## 6【研究開発活動】

「第2 企業の概況 - 3. 事業の内容」をご参照ください。

現在までに発生した研究開発費用は、主に視力を脅かす眼疾患の治療の開発に集中していました。当社と大塚製薬の間の提携契約を締結してからは、当社は、主にかかる契約に基づく当社の義務を果たすために尽力してきました。当社は、研究開発費用が発生した際にかかる費用を認識し、かかる費用には、治験責任医師に対する報酬、患者スクリーニング、臨床検査およびデータ収集ならびに統計解析に関するすべての手数料、委託製造業者に支払われる手数料、FDA規制要件の遵守に関連する費用、研究開発活動に携わる第三者機関に支払われるコンサルティング費用、研究開発機能における人員に対する報酬および関連費用ならびに一定の一般管理費の一部が含まれ、主にコンサルタント、開発業務受託機関、当社の臨床試験の独立の監視団ならびに当社の臨床試験に関連するデータの取得および評価を行う当事者に対して支払われる手数料で構成されます。当社は、継続的に製品候補を開発し、創薬研究活動を続けることにより、研究開発費用の米ドルの絶対額が増加することを予測しています。

## 研究開発

2012年12月31日終了年度の研究開発費は総額で約31.6百万米ドルであり、前年の24.2百万米ドルと比べて約7.4百万米ドルまたは30.7%の増加でありました。この増加は、レバミピド・プログラムおよびOPA-6566プログラムにおいてそれぞれフェーズ3およびフェーズ1/2の臨床実験を開始したことに関連する、それぞれ6.5百万米ドルおよび1.2百万米ドルの研究開発費の増加に起因するものでありました。この増加は、社内研究活動における0.6百万米ドルの減少により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト塩酸塩（エミクススタト契約に基づくプログラム）を含む「専有技術」、ならびにレバミピド（最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム）およびOPA-6566（緑内障薬に基づくプログラム）を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています（単位：パーセンテージを除き、千米ドル）。

	12月31日終了年度			
	2011年	2012年	2011年から2012年 にかけての推移	2011年から2012年 にかけての推移 (%)
専有技術	13,285	13,707	422	3.2%
インライセンス	7,756	15,382	7,626	98.3%
社内研究	3,142	2,515	(627)	(20.0)%
計：	24,183	31,604	7,421	30.7%

2013年9月30日に終了した9か月間における研究開発費は、総額で約26.2百万米ドルであり、前年同期と比較し約3.5百万米ドルまたは15.5%増加しました。かかる増加は、エミクススタトのフェーズ2b/3臨床試験の開始および実施に関連する研究開発費が7.1百万米ドル増加したことにより起ります。かかる増加は、主にOPA-6566のフェーズ1/2試験の完了による研究開発費の3.5百万米ドルの減少により相殺されました。社内研究活動に関連する費用は、実質的に前年同期と同様でした。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト（エミクススタト契約に基づくプログラム）を含む「専有技術」、ならびにレバミピド（最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム）およびOPA-6566（緑内障薬に基づくプログラム）を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究活動に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています (単位：パーセンテージを除き、千米ドル)。

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年	2013年	2012年から2013年 にかけての推移	2012年から2013年 にかけての推移
専有技術	9,743	16,813	7,070	72.6%
インライセンス <sup>(1)</sup>	11,074	7,528	(3,546)	(32.0)%
社内研究	1,878	1,880	2	0.1%
計：	22,695	26,221	\$3,526	15.5%

(1) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間それぞれにおけるインライセンス費用の過半は、レバミピドによるものでした。

## 7【財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析】

以下に含まれる将来予測の記述は、本書提出日現在における当社の判断に基づくものです。

### (1) 重要な会計方針および見積り

当社の財政状態および業績は、米国で一般的に認められた会計基準 (GAAP) に準拠して作成された財務書類に基づいて検討および分析されます。当社の財務書類を作成するにあたっては、資産、負債、収益、費用および経費の報告額ならびに関連開示に影響を及ぼす見積りおよび判断を示すことが求められます。当社は、以下に記載されるかかる見積りおよび判断を継続ベースで評価します。見積りは、過去の経験およびその状況において当社が合理的であると信じるその他の様々な仮定に基づきます。かかる見積りおよび仮定は、その他の資料からは必ずしも明らかでない資産および負債の帳簿価額を判断するための基礎を形成します。実際の結果および実績はこれらの見積りと大きく相違する場合があります。当社の見積りと実際の結果の間に差異が生じる限り、将来における当社の財務書類の表示、財政状態、業績およびキャッシュフローは影響を受ける可能性があります。以下に検討される会計方針は、経営陣の判断および見積りに影響する重要な分野と関連しているため、過去および将来における当社の業績を理解する上でこれらの会計方針はきわめて重要であると当社は考えます。

### 収益の認識

製品候補の開発および商業化のために製薬会社と提携契約を締結することは、当社の事業戦略の1つであります。契約の条項には、払戻不能のライセンス使用料、研究開発活動の資金提供、開発マイルストーンの達成に基づく支払い、規制および収益マイルストーンの達成に基づく支払い、ならびに製品売上または製品売上のロイヤリティが含まれる場合があります。当社は以下の4つの基本的な指標に合致したときに収益を認識します。(a) 取決めについての説得力のある証拠が存在する場合、(b) 引渡しが行われたまたはサービスが提供された場合、(c) 手数料が固定または決定可能な場合、および(d) 回収可能性が合理的に保証されている場合。

### 複数要素契約

当社の提携契約は、契約に含まれる提供物を識別し、当該提供物が個別の会計単位とみなされるかを決定するために分析される複数要素取決めであります。(i) 提供済みの要素が単独で顧客にとって価値を有し、かつ(ii) 当該取決め提供済みの要素に関する一般的な返品権利が含まれる場合、提供が済んでいない要素の引渡しまたは履行が可能でありかつ当社の実質的な管理下にあるとみなされる場合、提供物は個別の会計単位とみなされます。当社のいずれの提携契約においても返品権利はありません。

取決めの対価は、相対的販売価格に基づき個別の会計単位に配分されます。当社は、まず第一に公正価値に関する売り手特有の客観的証拠 (VSOE) (通常当社が商品またはサービスを単独で販売する価格) の有無を判断し、各会計単位に対する販売価格を決定するためのヒエラルキーに従います。公正価値に関するVSOEが利用できない場合、類似の商品またはサービスを類似する状況の顧客に単独で販売する売り手である第三者による証拠 (TPE) を、公正価値を決定するために用います。公正価値に関するVSOEおよびTPEのいずれも存在しない場合、当社は販売価格に関する最善の見積り (BESP) を当該会計単位のために用います。当社のBESPは、当社が通常会計単位を単独で販売する場合の取引価格を示しています。ヒエラルキー・アプローチに基づき、当社は提携契約においてはVSOEおよびTPEのいずれも利用することができないと判断し、様々な会計単位の公正価値を決定するにあたりBESPに依拠しています。

各会計単位の販売価格が設定されると、受領した対価は相対的販売価格に基づき会計単位に配分され、適用可能な収益認識基準はそれぞれ個別の単位に適用されます。個別の会計単位である提供済みの要素に配分される取決め対価額は、固定または決定可能な契約対価に限られます。もっぱら当社の管理下にない将来の事象の発生による偶発的な支払いは、当該偶発性が解消するまでの間、配分可能な契約対価から除外されます。

当社が継続的な履行義務を有する場合、比例履行法または時間基準法の2つの方法のうち1つを用いて収益を認識します。会計単位に基づくサービスの総額を見積もることができ、かかる履行義務が最善努力に基づき履行される場合、収益は比例履行法を用いて認識されます。予想される費用の総額と比較した現在までに発生した費用は、これが完成物の引渡しを表すものとして比例履行の決定に用いられます。予想費用総額見積りの変更は、見積りの変更として将来にわたって計上されます。当社が履行すべきサービスの総額を合理的に見積もることはできないものの、履行義務が消滅するかまたは重要でなくなる時を合理的に見積もることができる場合、収益は時間基準法を用いて認識されます。時間基準法のもとでは、収益は会計単位の見積履行期間にわたり均等に認識されますが、偶発事象の解消前を除きます。当社の履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を当社が合理的に見積もることができない場合、履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を合理的に見積もることができるまで、収益は繰延べられます。収益は、履行の残存見積期間にわたり認識されます。各会計単位において要求される努力の水準および当社の履行義務の完成に予想される期間の決定については、実質的な判断が必要とされます。

#### 実体的マイルストーンの支払い

当社が締結した提携契約には実体的マイルストーンが含まれています。実体的マイルストーンとは、(i) 当該取決めの締結日において当該事象が達成されるかについて実体的な不確実性があり、(ii) 当該事象の達成の全部または一部が、当社の実績または当社の実績から生じた個別の結果に基づいており、かつ(iii) 当該事象の達成の結果、当社に対する追加的な支払いが発生するという条件を満たす事象をいいます。マイルストーンが実体的であるとみなされるためには、その達成に関連する支払いは、(i) 過去の実績にのみ関連し、(ii) 取決めに含まれるすべての提供物および支払条件と比較して合理的であり、かつ(iii) マイルストーンの達成に必要とされた当社の努力またはマイルストーンの達成の結果がもたらした提供物の価値の増大と相応していなければなりません。

前述のすべての条件が満たされ、当該マイルストーンの前払いが払戻不能である場合にのみ、実体的マイルストーンの前払いは当該マイルストーンの達成後に認識されます。前払いが前述の条件を満たすかどうかの決定は、当社の判断に関わります。当社はその取決めの性質を評価し、適切な場合には当社の取決めにマイルストーン法を適用する方針選択を行うことを選択しました。

前述の条件のうちいずれかを満たさない場合、得られた支払いは実体的なマイルストーンとはみなされず、したがって、かかる支払いは配分可能な取決め上の対価の一部とみなされ、比例履行または時間基準法のうち適用ある方法に基づきまた前述の方針にしたがって、かかる履行義務が履行されるとともに収益として認識されます。

#### 繰延収益

上記の収益認識基準を満たす前に受領した金額は、繰延収益として計上されます。当社の2012年12月31日現在の長期繰延収益は、レバミピド契約の条件に基づき大塚製薬から受領した前受金の支払い2.0百万米ドルから構成されます。かかる金額は、大塚製薬がレバミピドの米国における開発中止を選択した後返還条項が終了したため、2013年第3四半期において収益として認識されました。その他の繰延収益は、エミクススタト契約に基づく活動資金のうち当社負担分について受領した前受金であります。



## 受託開発

エミクススタト契約は資金提供を受けた開発としての要素を含むため、当社の大塚製薬に対する債務が、貸金返還債務または契約上の役務を提供する債務として計上されるべきかを判断するため、当社は本契約を評価しました。貸金返還債務が存在しないとの結論に至るためには、当社から大塚製薬への研究開発に関連する財務リスクの移転が、実体的かつ真正である必要があります。当社は、当社の大塚製薬に対する債務は、契約上の役務を提供する債務であると判断しました。何故なら返済は開発結果に将来の経済的便益が存在することのみに依存しているからであります。結果として本取決めに基づく当社負担分の開発費用として大塚製薬より受領した金額は、収益として認識されます。2013年9月30日まで、前述のとおり偶発的要因により返済義務を負うものとして、約27.0百万米ドルの収益を認識しました。2013年9月30日現在、偶発的返済義務を負う提供資金に対し0.9百万米ドルの利息が累積しており、これについても提供資金と同一条件で偶発的に返済義務が生じます。

## 研究開発および臨床実験会計

研究開発費には、給与、研究および開発活動を実施するための外部サービス提供者および開発業務受託機関への支払手数料、研究所備品、ライセンス料、顧問料、ならびに旅費が含まれます。研究開発費は発生時に費用計上されます。一定の間接費用は、研究開発費および一般管理費の間で適切に割当てられます。

当社は、臨床実験またはその他の活動において支払われた額および履行された見積作業量に基づき、契約研究機関、臨床実験検査員およびその他の販売者について、臨床実験に関する前払資産および未払債務を計上します。契約上の財務条件は販売者によって異なり、結果として一定でない支払いフローになる可能性があります。このことにより、当社による前払金額が履行済み作業の見積りを超える場合、当社は前払資産を計上します。履行された作業の見積りが支払額を超える場合は、未払債務が計上されます。かかる費用はすべて、これらの見積りまたは実際に発生した費用に基づき研究開発費として処理されます。当社の見積りは、機関により履行された実際のサービス（被験者登録レベルおよび関連する活動から定まります。）と合致しない可能性があります。当社は、内部評価、契約研究機関とのやりとりおよび協議ならびに契約条件の見直しを通じて可能な範囲で被験者登録レベルおよび関連する活動を監視します。しかし、当社の有する情報が不完全または不正確である場合、所与のある時点における様々な臨床実験に関する活動レベルを過少にまたは過多に見積もる可能性があります。この場合、当社は実際の活動レベルが明らかになる将来の期間において相当の研究開発費を計上する可能性があります。現在まで、当社はかかる見積りの重大な変更を経験していません。また当社は、現在見積りの対象である臨床実験活動および関連費用の性質およびレベルの変更に伴う研究開発費の重大な調整を予測していません。当社は、将来当社が臨床実験活動を拡大するにつれて、見積りの影響を受けるであろう研究開発費レベルも上昇すると考えています。

## 法人税

当社は、繰延税金資産および負債を、財務書類または税務申告書においてすでに認識された事象の将来の税効果のために認識します。当社は、法人税債務が減少した時にのみ、一定のストック・オプション行使に関連する純営業損失（NOL）を直接株主資本に計上します。繰延税金負債および資産は財務書類上の帳簿価額と税務上の資産および負債の差異、営業損失ならびに繰越税額控除に基づき、当該差異または繰越が回収されるかまたは解消されると予想される年度において有効となると考えられる適用税率を用いて測定されます。当社の繰延税金資産は主に、繰越純営業損失と研究開発の繰越税額控除の一時的な差異に由来します。評価性引当金は、繰延税金資産のベネフィットが実現されない可能性が実現される可能性より高いと当社が考える場合に計上されます。

## 税務上の繰越損失

2012年12月31日および2013年9月30日現在、当社はそれぞれ2.7百万米ドルおよび0米ドルの繰越純営業損失を有しており、研究開発費の繰越税額控除は1.6百万米ドルおよび0.9百万米ドルでありました。繰越控除は、将来の租税債務を相殺するために活用されます。研究開発費の税額控除は、2022年から2031年の間に失効します。年間の制限により、繰越は活用される前に失効する可能性があります。

### 不確実な税務ポジション

当社は、税務ポジションのテクニカル・メリットに基づいて、税務当局による調査にあたり、税務ポジションを維持できる可能性が維持できない可能性より高い時にのみ、不確実な税務ポジションからの税務ベネフィットを認識します。財務書類において認識されるかかるポジションからの税務ベネフィットは、最終的な決定において、認識される可能性が50%超である最大のベネフィットに基づき測定されます。2012年12月31日または2013年9月30日現在において、当社に未認識税務ベネフィットはありませんでした。さらに、当社は、以後12か月間において、未認識税務ベネフィットにおけるいかなる重大な修正も見込んでいません。該当する利息および罰金があれば、税務費用として計上されます。

### 株式報酬

株式報酬費用は、持分報奨の付与日における見積公正価値に基づき、失効分を控除して、必要な役務期間（通常は権利確定期間）にわたり費用として認識されます。各持分報奨の公正価値は、ブラック・ショールズのオプション価格決定モデルを用いて見積もられます。当社は株式報酬費用を定額法に基づき認識しています。付与日現在の株式報奨の公正価値の決定には、以下について経営陣の判断が必要となります。

**予想ボラティリティ率** 新規株式公開前においては当社普通株式について公開市場は存在せず、従って会社独自の実績または予想ボラティリティ率のデータが存在しないことから、当社のピアグループとみなされる一定の公開会社の分析に基づき株式の予想ボラティリティ率を決定しています。当社のピアグループに含まれる企業は、当社と類似の特性、すなわち進行中の実験、戦略的提携の存在、企業規模、地理的場所および製品候補ポートフォリオ等の組み合わせを有する企業を表象するために選択されました。選択された企業は、異なる収益レベル（実質的に収益前、またはつい最近収益を上げ始めたものを含みます。）および利益率（マイナスの利益率を含みます。）を有しています。当社のピアグループには、市販品を有する複数の企業が含まれます。ピアグループ企業を選出する基準において市販品の有無は含まれていませんでしたが、当社は、市販品を有する企業において一般的であるように、当社は現在純利益および営業活動におけるプラスのキャッシュフローを創出し事業を展開していることから、市販品を有する企業を含むことが適切であると考えます。

**予想期間** 当社は従業員ストック・オプションの予想期間を単純化された手法に基づき決定します。同アプローチにおいて、予想期間は権利確定期間と契約期間の平均であると推定されます。非従業員に対して付与されるオプションの予想期間は、一般的にオプションの契約期間であります。

**無リスク金利** 無リスク金利は、付与日における、対応するオプションの予想期間と同等の期間について発行された米国財務省証券に基づきます。オプションの予想期間が公表利率に合致しない場合、当社は利率を定額補完します。

**予想配当** 当社は普通株式について過去に現金配当を支払ったことがなく、当面はこれを支払う意向はありません。

**原株式の公正価値** 新規株式公開以前には当社の普通株式について公開市場は存在しないことから、当社は普通株式の公正市場価値を、下記の「普通株式の評価」に述べるとおり決定しました。

## 普通株式の評価

下表は、2012年1月1日以降に付与されたストック・オプションについて付与日毎に要約したものであります。以下に述べるとおり、当社は各付与についてその行使価格を付与日における当社普通株式の1株あたりのみなし公正価値に等しいものと判断しています。

付与日	付与オプションの対象となる株式数	1株あたりの行使価格	当社普通株式1株あたりのみなし公正価値	1株あたりの加重平均見積公正価値
2012年5月24日	163,900	\$ 9.30	\$ 9.30	\$ 5.88
2012年11月6日	90,000	10.33	10.33	5.01
2013年2月14日	55,000	10.33	10.33	4.71
2013年5月22日	55,250	22.69	22.69	11.07

1株あたりの想定発行価格である16.50米ドルに基づき、2013年9月30日現在の普通株式購入にかかる発行済み確定および未確定オプションの本源的価値総額はそれぞれ4.9百万米ドルおよび1.8百万米ドルでありました。

ブラック・ショールズ・オプション価格決定モデルを用いて公正価値計算を行う場合、株式報奨の基礎となる普通株式のみなし公正価値を見積もらなければなりません。当社の株式報奨の基礎となる当社普通株式のみなし公正価値は、各付与日に、経営陣からの情報提供に基づき当社の取締役会が決定しています。2006年12月以降、当社は普通株式のみなし公正価値決定を補助するため、第三者評価会社により作成された評価分析を取得しています。同評価は米国公認会計士協会実務ガイド「報酬として発行された非公開会社株式の評価」(以下「本実務ガイド」といいます。)と適合する手法、アプローチおよび仮定を用いています。これらの評価に関連して、当社は収益および費用の見積予測、ならびに開発中の化合物、当社の業績ならびに経済および金融市場状況の情報を、これらの情報およびその他の情報をその評価分析に使用する第三者評価会社に提供しています。当社取締役会は株式報酬付与と併せてこれらの評価を検討し承認しました。当社普通株式の公正価値決定にあたり、取締役会はこれらの評価報告ならびに関連性があると判断されたその他の定性および定量要因を検討しており、当該要因には以下が含まれます。

- ・ 化合物の開発状態、および当社が成功裏に化合物を開発し商業化する能力
- ・ 提携パートナーとの関係性
- ・ 提携契約を通じライセンスされた化合物以外の継続的研究プログラム
- ・ 追加的提携契約を締結する当社の能力
- ・ 財務実績
- ・ 収益および利益予測
- ・ 現金燃焼率
- ・ 当社と同格の企業の株式の市場価値
- ・ 潜在的将来キャッシュフローの現在価値

上記のとおり、第三者評価会社は、当社普通株式のみなし公正価値の前提となる企業価値を算定するため収益アプローチ(以下「インカム・アプローチ」といいます。)を適用して、トップダウン評価を行いました。当社は収益、費用およびキャッシュフローについての財務予想を見積りベースで、エミクススタト塩酸塩(以下「エミクススタト」といいます。)の当初の特許期間が消滅すると予想される2028年まで作成しました。第三者評価会社はインカム・アプローチにより当社企業価値を算定するため、同予想を割引キャッシュフロー(以下「DCF」といいます。)法において使用しました。財務予測はいくつかの仮定に基づいており、同仮定には当社化合物の開発段階、成功裏に化合物を開発し商業化する能力、および当社提携パートナーとの継続的関係に関する仮定が含まれます。

DCF法を用いたインカム・アプローチにおいて、見積将来フリー・キャッシュフロー・リターンは投資の適切な収益率(割引率は将来的なリターンに関連するリスクおよび代替投資により入手可能なリターンを反映します。)により現在価値に割引られます。より高いリスクはより高い割引率につながり、より低い投資価値をもたらします。インカム・アプローチにおいて、個別期間のキャッシュフローは数年にわたり見積られ、また残存期間について見積もられます。同分析は以下を含む複数の仮定に基づいています。

- ・ 当社化合物の開発段階および当該化合物が継続して開発され商業化される確率
- ・ 当期および将来期間における予想収益成長、収益原価、営業費用、減価償却費、法人税および資本支出 (その仮定は評価の有効日現在の当社見積りに基づきます。)
- ・ 個別期間の予想キャッシュフローおよび個別期間以降の予測残存キャッシュフローに適用された割引率

企業価値に算出するためDCF法を用いた後、本評価において企業価値にキャッシュバランスが加えられ、投下資本の公正価値、すなわち株主資本 (普通株式および普通株式に転換可能または行使可能な有価証券) を含む、すべての投資家に属する価値が、非営業資産または負債の検討前に算出されます。当社の投下資本総額算出後、資本総額は各転換優先株式のシリーズ、条件付転換債務、普通株式および普通株式購入オプションに配分されます。本実務ガイドに従い、転換優先株式、条件付転換債務、および普通株式の各株式の価値は、オプション価格法分析より推測することができます。2013年5月1日の評価より、IPOへの近接性に鑑み、当社は確率加重期待リターン法 (以下「PWERM」といいます。) を採用しました。評価法の変更を決定する前に、当社はオプション価格法およびPWERMの両方を評価しました。IPOまでの期間が短いこと、ならびに企業価値が優先株式および条件付転換債務の優先的分配権に比較し高いことにより、オプション価格法のもとでの優先的分配権の値は極めて小さいものでした。従って、普通株式の見積価値はPWERMにおいてもオプション価格法においても実質的に同じでありました。

オプション価格法分析は資本構成を成す種々の株式の公正価値を、将来における会社売却または資産の流動化による予想収益に対する一連のコール・オプションとしてモデル化します。同モデルは、各種類の有価証券の公正価値を、会社の現在の見積公正価値ならびに各種類における権利および優先性に基づく仮定の関数として計算します。第三者評価会社により使用されるオプション価格法の下では、企業価値は転換優先株式、条件付転換債務、普通株式および普通株式購入オプションに対し、ブラック・ショールズ・オプション価格決定モデルの一種を用いて配分されます。ブラック・ショールズにおける仮定を決定するため、流動化事象までの期間が見積もられ、無リスク金利が決定され (通常流動化までの仮定期間と期間が合致する政府債の利率に基づきます。)、またボラティリティ率に関する仮定が決定されます。非公開会社については、ボラティリティ率は同等の公開会社における株価の実績と、会社の相対的なライフサイクル段階の検討に基づきます。転換優先株式、条件付転換債務、普通株式および普通株式購入オプションに企業価値を配分するためオプション法が使用された後、普通株式に配分された価額について「市場性の不存在」に関する割引が適用され、普通株式の価値算出に用いられます。

PWERMは会社事業の将来起こりうる事象についての将来的な見通しの分析を必要とします。同手法は、個別の将来事象が高度の信頼性および確率分布をもって予測できる場合に特に有用であります。PWERMの下で検討される個別の将来事象には、IPOシナリオのみならず非IPO市場ベースの事象も含まれます。非IPOシナリオにおいては、より高い総優先的分配権を反映するため総資本価値の大部分が転換優先株式に配分されます。IPOシナリオにおいて総資本価値は、普通株式および転換優先株式の各シリーズの株式に比例配分され、非IPOシナリオに比較し普通株式により高い1株あたりの相対価値が生じることとなります。非IPOおよびIPOシナリオを使用した事業の公正価値は、各シナリオの確率見積りにより加重されます。

場合に応じてオプション価格法またはPWERMが、転換優先株式、条件付転換債務、普通株式および普通株式購入オプションに企業価値を配分するために用いられた後、普通株式に配分された価額について「市場性の不存在」に関する割引が適用され、普通株式の価値決定のために用いられました。「市場性の不存在」に関して、市場性のない投資の保有者は、私的取引により他の投資家に投資を売却する前に当該投資の価値が下落するというリスクに服しています。逆に、当該投資について活発な公開市場が存在するという事実以外は全く同一の投資の保有者は、同じリスクに服していません。従って、市場性のない投資の保有者は、市場性のある投資の保有者に比較し、より高い要求収益率を有することとなります。結果として、市場性のない投資は、市場性がある以外は全く同一の投資に比較し割り引かれて販売されます。最終的に、市場性の不存在に関する割引の程度を影響する要因は、大きく次の二つに分類されます。すなわち、(1)購入者を特定し売却を交渉するため、または株式公開を通じて売却するために必要な保有期間の長さに影響する要因、ならびに(2)当該保有期間における時間一単位あたりに直面するリスクの程度に影響する要因であります。時間一単位あたりのリスクは、近年の投資理論によれば、投資の合計投資収益 (すなわち、配当およびキャピタル・ゲインの両方) におけるボラティリティ率、または実際の投資収益が期待収益と異なる傾向をいいます。保有期間の長さを増加するか、または投資の合計収益の予想ボラティリティ率を増加させる要因は、市場性の不存在についてより高い割引をもたらします。

### 2012年4月1日における評価

2012年4月1日現在、当社取締役会は当社普通株式のみなし公正価値を1株あたり9.30米ドルである旨決定しました。当社取締役会は同価値決定にあたり、2012年4月1日現在で行われた当社普通株式についての第三者による評価を考慮しており、同評価において当社普通株式の当時ののみなし公正価値は1株あたり9.30米ドルと見積もられています。2012年4月1日の評価において、インカム・アプローチに基づき、割引率22%が適用されました。企業価値を算出した後、投下総資本の公正価値を算出するためキャッシュバランスが加えられました。当社投下総資本の公正価値の一部は、オプション評価法に従い当社普通株式に配分されました。同配分においては、変数について無リスク率約0.26%、ボラティリティ率約55% (当社ピアグループに基づきます。) および満了までの期間約1.5年との仮定がなされました。最後に本評価において、公開市場に対する市場性の不存在および新規株式公開への近接性を考慮するため、市場性に関する割引25%が適用されました。2012年4月1日の評価において使用された収益前提は、エミクススタトについての目標NDA承認日2019年を反映しています。

同評価および他の要因により、当社取締役会は、付与日における当社普通株式のみなし公正価値である1株あたり9.30米ドルを2012年5月24日に付与されたオプションの行使価格として使用しました。当社取締役会は2012年4月1日から次の評価が行われた2012年10月1日までの期間においてその他のオプションを付与しませんでした。

### 2012年10月1日における評価

2012年10月1日現在、当社取締役会は当社普通株式のみなし公正価値を1株あたり10.33米ドルである旨決定しました。当社取締役会は同価値決定にあたり、2012年10月1日現在で行われた当社普通株式についての第三者による評価を考慮しており、同評価において当社普通株式の当時ののみなし公正価値は1株あたり10.33米ドルと見積もられています。2012年10月1日の評価において、インカム・アプローチに基づき、割引率22%が適用されました。企業価値を算出した後、投下総資本の公正価値を算出するためキャッシュバランスが加えられました。当社投下総資本の公正価値の一部は、オプション評価法に従い当社普通株式に配分されました。同配分においては、変数について無リスク率約0.17%、ボラティリティ率約50% (当社ピアグループに基づきます。) および満了までの期間約1年との仮定がなされました。最後に本評価において、公開市場に対する市場性の不存在および新規株式公開への近接性を考慮するため、市場性に関する割引20%が適用されました。

同評価および他の要因により、当社取締役会は、付与日における当社普通株式のみなし公正価値である1株あたり10.33米ドルを2012年11月6日および2013年2月14日に付与されたオプションの行使価格として使用しました。

当社は、1株あたりのみなし公正価値の2012年4月1日の評価9.30米ドルから2012年10月1日の評価10.33米ドルへの増加は、インカム・アプローチにおけるエミクススタトに関する収益前提の修正、および新規株式公開完了に向けた当社の継続的進捗の複合的影響によるものであると解します。2012年10月1日の評価に用いられた収益前提は、追加的な収益機会を生じさせる将来におけるドライ型AMD患者数見積りの増加を反映しており、またエミクススタトについての目標NDA承認日2019年を継続して反映しています。市場性割引は新規株式公開に向けた進捗を踏まえて25%から20%に減少されました。

### 2013年5月1日における評価

2013年5月1日現在、当社取締役会は当社普通株式のみなし公正価値を1株あたり22.69米ドルである旨決定しました。当社取締役会は同価値決定にあたり、2013年5月1日現在で行われた当社普通株式についての第三者による評価 (同評価において当社普通株式の当時ののみなし公正価値は1株あたり22.69米ドルと見積もられています。) および以下に述べる当社開発プログラムの加速化を考慮しています。2013年5月1日の評価において、インカム・アプローチに基づき、割引率21%が適用されました。企業価値を算出した後、投下総資本の公正価値を算出するためキャッシュバランスが加えられました。当社投下総資本の公正価値の一部は、PWERMに基づき当社普通株式に配分されました。同配分においては、IPO発生確率100%ならびに優先株式および条件付転換債務の普通株式の転換率100%の仮定がなされました。最後に本評価において、公開市場に対する市場性の不存在および新規株式公開への近接性を考慮するため、市場性に関する割引20%が適用されました。2013年5月1日の分析に関連して、当社は評価分析に用いる同格会社のリストを見直し、東京証券取引所のマザーズ市場に当社普通株式を上場する計画を踏まえ、一定の日本の上場企業を追加しました。ピアグループの変更、またはPWERMへの移行のいずれも、2013年5月1日現在の当社の普通株式評価に重大な影響を及ぼしませんでした。

同評価および他の要因により、当社取締役会は、付与日における当社普通株式のみなし公正価値である1株あたり22.69米ドルを2013年5月22日に付与されたオプションの行使価格として使用しました。

当社は米国食品医薬品局 (以下「FDA」といいます。)との事前のやりとりを基に、エミクススタトに関する規制承認の代替経路を検討することができました。かかる代替アプローチは、試験の結果が化合物の有効性および安全性を強く示した場合、試験の数を低減するものと考えられ、従って、計画よりも早く、エミクススタトを市場に投入できる可能性があります。さらに、当社は、新たに予想される入手可能なリソースに基づき、現在は医薬品候補ではなくなったレバミピドの規制承認までの時間を再検討しました。2013年3月および4月に、当社は事業活動について更新された開発スケジュールを作成し、JDCに対し、開発プログラムを加速化する当社の意思と能力を通知しました。4月におけるJDCとの会合を受け、当社は事業計画を最終化し、当社のプログラムの新たなタイムラインに向けて活動を開始しました。商業化タイムラインの加速化は、当社の評価に用いられた付随する収益前提の加速をもたらしました。この結果、当社の取締役会は、当社普通株式の1株あたりのみなし公正価値を2012年10月1日の評価10.33米ドルから2013年5月1日の評価22.69米ドルへ増加することを正当化する、評価に影響を与える重大事象が発生した旨判断しました。

### 営業活動勘定について

収益は現在まで主に、大塚製薬との提携およびライセンス契約に基づく研究開発活動により生成されています。当社の収益は主に、提携契約に関連して当社の外部サービス提供者に支払った料金に対する大塚製薬からの払戻し、エミクススタト契約に基づく開発費用の当社負担分に対する大塚製薬からの資金提供、当社の人材が提供する開発サービス、提携研究プログラムの一部として提供されたサービスに対する大塚製薬からの支払い、エミクススタト契約の一部としての初期ライセンス料、およびマイルストーン支払により構成されます。当社は、当社の生み出すあらゆる収益は、開発段階の化合物の性質およびタイミングの結果として四半期毎に変動すると考えています。

研究開発費で現在までに発生したものは、視力を脅かす疾患の治療法の開発にその大部分が注入されてきました。大塚製薬と提携契約を締結して以降、当社の努力は主にそれに従った義務を履行することに向けられています。当社はその発生時に研究開発費を認識します。同費用は主にコンサルタント、契約研究機関、臨床実験の独立モニター、ならびに臨床実験関連データを取得および評価する者への支払費用で構成され、この中には研究者への助成、被験者の適性審査、実験業務ならびにデータの集計および統計分析等の関連するすべての料金、契約製造者への支払費用を含む臨床材料の製造関連費用、FDAの規制要件を遵守するための費用、研究開発活動に関与する第三者に支払うコンサルティング料、研究開発部門における報酬および関連人件費ならびに一定の一般管理費についての割当部分が含まれます。当社は、当社が製品候補の開発を続け、創薬研究活動を続けるにつれて、研究開発費は米ドルの絶対額において増加すると考えています。

一般管理費は主に、役員ならびに財務、会計および人事を含む管理部門の従業員への報酬で構成されます。その他の高額費用は施設費用ならびに会計および法務サービスの専門家報酬を含み、これには特許の取得および維持に関連する法務サービスが含まれます。当社は、当社が知的財産ポートフォリオを含む事業の成長に関連する追加費用を負担し、公開会社としての報告要件および法令の遵守義務を負担するにつれて、米ドルの絶対額において一般管理費は増加すると考えています。

受取利息は主に、現金、現金同等物ならびに短期および長期の投資で構成されます。

支払利息は主に、条件付転換債務について負担する支払利息で構成されます。

その他の利益 (費用) は主に、日本事務所の取引により負担する為替差損益、固定資産の処分による損益またはその他の諸項目で構成されます。

法人税ベネフィット (費用) は主に、評価性引当金の減少、繰越純営業損失の活用から所得に対して課せられた税額を控除したもので構成されます。

## 最近採用された会計基準

当社は、その他の包括利益に報告される項目をより顕著にするため権威あるガイダンスを採用しました。この指針において事業体は、包括利益の総額、純利益の構成要素およびその他の包括利益の構成要素を、一つの連続した包括利益計算書、または二つの別個ではあるが連続した計算書のいずれかで表示することを選択することができます。当社は、別個ではあるが連続した計算書上において包括利益を表示することを選択しました。この指針は包括利益の構成要素についての基本的な会計に影響を及ぼしません。

## (2) 財務状態の分析

### 資産

#### 流動資産

2012年12月31日現在の流動資産は総額39.6百万米ドルであり、2011年12月31日に対して7.2百万米ドルまたは22.3%の増加を示しました。かかる変化は主に、5.0百万米ドルのマイルストーン支払いの受領を含む収益の増加および未収金の回収の結果として、現金、現金同等物および短期投資が9.5百万米ドル増加したことにより生じました。

2013年9月30日現在の流動資産は総額42.2百万米ドルであり、2012年9月30日現在と比較して1.3百万米ドルまたは3.2%の増加を示しました。かかる変化は主に、現金、現金同等物および短期投資の減少で部分的に相殺された収益の増加の結果として未収金が2.6百万米ドル増加したことにより生じました。

#### 非流動資産

2012年12月31日現在の非流動資産は総額7.5百万米ドルであり、2011年12月31日から1.7百万米ドルまたは18.4%の減少を示しました。かかる変化は主に、課税所得を減殺するために純営業損失を活用した結果として、長期繰延税金資産が2.7百万米ドル減少したことにより生じました。

2013年9月30日現在の非流動資産は総額10.3百万米ドルであり、2012年9月30日から2.3百万米ドルまたは28.2%の増加を示しました。かかる変化は主に、課税所得を減殺するために純営業損失を活用したことによる長期繰延税金資産の減少により一部相殺された、繰延株式発行費用3.1百万米ドルの増加および制限付長期投資1.7百万米ドルの増加の結果として生じました。

### 債務

#### 流動負債

2012年12月31日現在の流動負債は総額13.6百万米ドルであり、2011年12月31日に対して3.3百万米ドルまたは19.6%の減少を示しました。かかる変化は主に、手形の満期が2014年2月28日に延長された結果、関連当事者に対する一年以内満期の条件付転換債務が4.3百万米ドル減ったことにより生じました。

2013年9月30日現在の流動負債は、20.5百万米ドルであり、2012年9月30日現在と同一でありました。未払債務の増加により繰延収益3.2百万米ドルの認識が相殺されました。

#### 長期負債

2012年12月31日現在の長期負債は総額7.8百万米ドルであり、2011年12月31日に対して4.1百万米ドルまたは107.8%の増加を示しました。かかる変化は主に、関連当事者に対する長期条件付転換債務が4.3百万米ドル増加したことにより生じました。

2013年9月30日現在の長期負債は、0.1百万米ドルであり、2012年9月30日現在と比較して2.2百万米ドルまたは94.5%の減少を示しました。かかる変化は主に、2.0百万米ドルの繰延収益が認識されたことによるものです。

### 株主資本

2012年12月31日現在の株主資本は総額25.6百万米ドルであり、2011年12月31日現在に対して4.8百万米ドルまたは22.9%の増加を示しました。かかる変化は主に、当期における会社利益の結果として累積欠損が4.2百万米ドル減少したことにより生じました。

2013年9月30日現在の株主資本は総額31.8百万米ドルであり、2012年9月30日現在と比較して6.5百万米ドルまたは25.7%の増加を示しました。かかる変化は主に、当期における会社利益の結果として累積欠損が5.0百万米ドル減少したことにより生じました。

### (3) キャッシュフローの分析

#### 流動性および資本資源

創業以来、当社は主に転換優先株式および条件付転換債務を発行することにより、また2009年からは営業で生成された現金により営業資金を拠出しています。2007年までの間、当社は転換優先株式の売却により28.2百万米ドルおよび条件付転換債務の売却により12.0百万米ドルの手取金を稼得しました。開発活動に対する大塚製薬からの資金提供および大塚製薬からのマイルストーン支払いの受領により、当社の現金需要は限定的であります。製品開発に内在する不確実性のため、製品候補の開発を完遂するための現金需要を正確に見積もることは困難であります。しかし、当社はかかる費用については開発契約に基づき引き続き大塚製薬から資金提供されると考えています。

当社が有する現金、現金同等物および投資は、2012年12月31日および2013年9月30日現在でそれぞれ23.6百万米ドルおよび21.7百万米ドルでありました。現金および現金同等物は、取得日後3か月以内に満期が到来する、短期の流動性の高いすべての投資を含みます。現金同等物は、マネー・マーケット・ファンド、地方債および社債で構成されます。2012年12月31日および2013年9月30日現在の短期投資はコマーシャルペーパー、社債、預金証書および政府保証債で構成されます。取得日現在の満期が3か月から1年の間である投資は、短期投資に分類されます。第三者金融機関への預金額は、連邦預金保険公社および証券投資家保護公社の適用ある保証上限を超える可能性があります。

当社はまた、1件のリボルビング・クレジットライン・ノート(以下「信用枠」といいます。)に基づく運転資本に対する5.0百万米ドルの信用枠を維持しています。信用枠に対する利息は、(i)銀行が決定する年間変動利率(信用枠において定義される1か月LIBOR+1.25%)または(ii)銀行が決定する年間固定利率(信用枠において定義される適用ある期間の初日に有効であるLIBOR+1.25%)のいずれかに基づき発生し、毎月支払われます。信用枠における元本の残高は、2014年1月20日に支払期限が到来します。2012年12月31日現在または2013年9月30日現在、信用枠における残高はありませんでした。法人クレジット・カード・プログラムに基づき留保される0.4百万米ドルにより、現在の借入可能額は4.6百万米ドルであります。2012年12月31日および2013年9月30日現在、信用枠はそれぞれ約5.8百万米ドルおよび約5.8百万米ドルの制限付投資残高により全額保証されています。

以下の表は、2011年および2012年の12月31日終了年度ならびに2012年および2013年9月30日に終了した9か月間のキャッシュフローの要約を示しています(単位:千米ドル)。

	12月31日終了年度		9月30日に終了した 9か月間	
	2011年	2012年	2012年	2013年
営業活動によるキャッシュフロー	437	11,246	9,984	1,018
投資活動によるキャッシュフロー	(4,093)	(3,743)	(5,568)	(10,912)
財務活動によるキャッシュフロー	(581)	(624)	(409)	(2,173)

#### 営業活動によるキャッシュフロー

営業活動により生成された現金および現金同等物は、2011年および2012年の12月31日終了年度においてそれぞれ0.4百万米ドルおよび11.2百万米ドルでありました。2012年の現金流入は主に4.2百万米ドルの純利益から生じ、これが繰延税金資産2.4百万米ドルおよび未収金3.6百万米ドルの減少ならびに買掛金の1.9百万米ドルの減少により一部相殺された未払債務1.3百万米ドルの増加により調整されました。2011年の現金流入は主に6.3百万米ドルの純利益から生じ、未収金の5.2百万米ドルおよび繰延税金資産の2.6百万米ドルの増加により一部相殺されました。



営業活動により生成された現金および現金同等物は、2012年および2013年9月30日に終了した9か月間においてそれぞれ10.0百万米ドルおよび1.0百万米ドルでした。2013年9月30日に終了した9か月間においては、未収金5.1百万米ドルの増加および繰延収益2.6百万米ドルの減少により一部相殺された、5.1百万米ドルの四半期純利益、未払債務1.5百万米ドルの増加および繰延税金2.0百万米ドルの減少の結果として営業活動により1.0百万米ドルが生成されました。2012年9月30日に終了した9か月間においては、現金流入は主に4.1百万米ドルの四半期純利益および大塚製薬による支払金の受領による繰延収益3.2百万米ドルの増加の結果です。

### 投資活動によるキャッシュフロー

2011年および2012年に投資活動に使用された現金(純額)は、それぞれ4.1百万米ドルおよび3.7百万米ドルでありました。かかる変化は主に市場性有価証券の購入(純額)により生じました。

2013年9月30日に終了した9か月間に投資活動に使用された現金(純額)は、10.9百万米ドルであり、主に市場性有価証券の購入(純額)により生じました。2012年9月30日に終了した9か月間に投資活動に使用された現金(純額)は、5.6百万米ドルであり、主に市場性有価証券の購入(純額)により生じました。

### 財務活動によるキャッシュフロー

2011年および2012年に財務活動に使用された現金(純額)は、それぞれ0.6百万米ドルおよび0.6百万米ドルであり、主に当社の新規株式公開に関連する繰延費用で構成されました。

2012年および2013年9月30日に終了した9か月間において財務活動に使用された現金(純額)は、それぞれ0.4百万米ドルおよび2.2百万米ドルでした。かかる変化は、主に当社の新規株式公開に関連する繰延費用の計上によるものです。

当社は、営業からの現金、現金および投資のバランスならびに5.0百万米ドルの信用枠は、当社の継続的営業活動、運転資本、債務の元本および利息の支払い、資本支出ならびにその他の資本需要を少なくとも今後12か月にわたって賄うのに十分であると考えます。当社の将来的な資本需要は、収益の伸び率、研究開発活動の拡大、大塚製薬との提携契約に基づく製品候補の共同販売に関する選択、および大塚製薬との提携契約に基づくマイルストーン達成のタイミングを含む多くの要素に依存します。当社は現在、補完的な事業、アプリケーションまたは技術への潜在的な投資またはその取得に関する一切の契約および合意の当事者となっていませんが、当社はこうした種類の契約を締結する可能性があり、これにより追加的な資本または負債による資金調達が必要となる可能性があります。

#### (4) 業績の分析

### 2012年9月30日に終了した9か月間と2013年同日終了の9か月間の比較

#### 関連当事者との提携からの収益

2013年9月30日に終了した9か月間における関連当事者との提携からの収益は総額で約41.7百万米ドルであり、前年同期と比較し、約6.6百万米ドルまたは18.7%の増加を示しました。収益におけるかかる増加は主に、フェーズ2b/3臨床試験の開始に関連する5.0百万米ドルのマイルストーン支払いを含む、フェーズ2b/3臨床試験における活動増加に関連する、エミクススタト契約に基づく開発サービスからの14.5百万米ドルの増収に起因するものですが、緑内障契約に基づくフェーズ1/2臨床試験の完了による4.8百万米ドルの減収およびレバミピド契約に基づくフェーズ3臨床試験の完了による3.1百万米ドルの減収により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト(エミクススタト契約に基づくプログラム)を含む「専有技術」、ならびにレバミピド(最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム)およびOPA-6566(緑内障契約に基づくプログラム)を含む「インライセンス」であります。

以下の表は、当社の臨床プログラムからの収益を示しています (単位：パーセンテージを除き、千米ドル)。

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年	2013年	2012年から2013年 にかけての推移	2012年から2013年 にかけての推移 (%)
専有技術	13,999	28,464	14,465	103.3%
インライセンス <sup>(1)</sup>	21,142	13,231	(7,911)	(37.4)%
計：	35,141	41,695	\$6,554	18.7%

(1) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間におけるインライセンス収益の過半は、レバミピドによるものでした。

**専有技術** 2013年9月30日に終了した9か月間において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムからの収益は、前年同期から14.5百万米ドルまたは103.3%増加しました。かかる増加は主に、フェーズ2b/3臨床試験の開始に関連した5.0百万米ドルのマイルストーン支払いならびにかかる試験の準備および遂行に関する活動の増加によるものでした。

**インライセンス** 2013年9月30日に終了した9か月間において、インライセンス臨床プログラムからの収益は、前年同期から7.9百万米ドルまたは37.4%減少しました。かかる減少は主に、緑内障契約に基づくフェーズ1/2臨床試験の完了による4.8百万米ドルの減収およびレバミピド契約に基づくフェーズ3臨床試験の完了による3.1百万米ドルの減収ならびに2.0百万米ドルの繰延収益の認識に起因するものでした。2013年9月に、大塚製薬は、フェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由によりレバミピド契約を解除しました。従って、かかる契約の解除により、予測可能な将来におけるインライセンス臨床プログラムによる当社の収益は、過去の水準よりも著しく低くなるものと当社は予想しております。レバミピド契約が解除された結果、返還条項が終了となり、2.0百万米ドルの繰延収益を認識しました。

## 費用

### 研究開発

2013年9月30日に終了した9か月間における研究開発費は、総額で約26.2百万米ドルであり、前年同期と比較し約3.5百万米ドルまたは15.5%増加しました。かかる増加は、エミクススタトのフェーズ2b/3臨床試験の開始および実施に関連する研究開発費が7.1百万米ドル増加したことに起因します。かかる増加は、主にOPA-6566のフェーズ1/2試験の完了による研究開発費の3.5百万米ドルの減少により相殺されました。社内研究活動に関連する費用は、実質的に前年同期と同様でした。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究活動に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています (単位: パーセンテージを除き、千米ドル)。

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年	2013年	2012年から2013年 にかけての推移	2012年から2013年 にかけての推移
専有技術	9,743	16,813	7,070	72.6%
インライセンス <sup>(1)</sup>	11,074	7,528	(3,546)	(32.0)%
社内研究	1,878	1,880	2	0.1%
計:	22,695	26,221	\$3,526	15.5%

(1) 2012年および2013年9月30日に終了した9か月間それぞれにおけるインライセンス費用の過半は、レバミピドによるものでした。

**専有技術** 2013年9月30日に終了した9か月間において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムに関連する研究開発費は、前年同期に比べ7.1百万米ドルまたは72.6%増加しました。かかる増加は主に、エミクススタトのフェーズ2b/3試験の開始および実施に関連する開発活動に起因するものでした。

**インライセンス** 2013年9月30日に終了した9か月間におけるインライセンス臨床プログラムに関連する研究開発費は、OPA-6566のフェーズ1/2試験の完了により、前年同期に比べ3.5百万米ドルまたは32.0%減少しました。2013年9月に、大塚製薬は、フェーズ3臨床試験において主要評価項目が達成されなかったとの理由によりレバミピド契約を解除しました。従って、かかる契約の解除により、予測可能な将来におけるインライセンス臨床プログラムによる当社の収益は、過去の水準よりも著しく低くなるものと当社は予想しております。

**社内研究** 2013年9月30日に終了した9か月間における当社の創薬研究活動に関する研究開発費は、前年同期と同水準でした。

**一般管理費** 2013年9月30日に終了した9か月間における一般管理費は、前年同期と比べて約1.8百万米ドルまたは29.7%増加し、総額で約7.7百万米ドルでありました。かかる増加は主に、当社CEOに対し雇用契約に基づき付与された株式および関連する報酬の総額0.8百万米ドルによるものであり、また、金額はそれほどではないものの、人員の募集およびそれに関連する支出が増加したことによるものでありました。報酬および給付金費用もまた、従業員の増加および一般管理部門の人員に関連する株式報酬費用の上昇に起因し、増加しました。

**法人税費用** 2013年9月30日に終了した9か月間における法人税費用は、総額で約2.7百万米ドルでした。2012年9月30日に終了した9か月間における法人税費用は、約2.3百万米ドルでした。これは、2013年および2012年のそれぞれの実効税率35%および36%を反映したものです。米国の連邦法定税率34%と当社における実効税率の差は主に、会計上の利益および課税所得の差に起因するものであります。

## 2011年12月31日終了年度と2012年同日終了年度の比較

### 関連当事者との提携からの収益

関連当事者との提携からの収益は総額で約46.4百万米ドルであり、前年の34.2百万米ドルと比べて約12.2百万米ドルまたは35.6%の増加を示しました。収益におけるかかる増加は主に、提携契約に基づく開発サービスからの11.1百万米ドルの増収に起因し、これにはレバミピド・プログラムのフェーズ3臨床実験が開始された結果としての大幅な活動増加に伴う8.1百万米ドルが含まれています。レバミピドのフェーズ3臨床実験の開始に関連して大塚製薬から受領したマイルストーン支払い15.0百万米ドル、ならびに製品候補全体の開発費における3.0百万米ドルの増加がかかる増益に寄与しましたが、2011年の収益のうち3.9百万米ドルについて寄与し同年に終了したVCM研究プログラムにおける減益により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよびその他のプログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。その他プログラムを構成するカテゴリは「VCM研究」であり、これは自社臨床開発プログラムとは別個の3年にわたる15.0百万米ドル規模のVCMに関する提携研究プログラムで、エミクススタト契約に基づき大塚製薬から資金提供を受けます。

以下の表は、当社の臨床およびその他のプログラムからの収益を示しています (単位: パーセンテージを除き、千米ドル)。

	12月31日終了年度			
	2011年	2012年	2011年から2012年 にかけての推移	2011年から2012年 にかけての推移 (%)
専有技術	17,779	19,328	1,549	8.7%
インライセンス	12,557	27,096	14,539	115.8%
VCM研究	3,890	-	(3,890)	(100.0)%
計:	34,226	46,424	12,198	35.6%

**専有技術** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムからの収益は、前年の17.8百万米ドルから1.5百万米ドルまたは8.7%増加し、19.3百万米ドルでありました。かかる変化は主に、2012年12月31日現在その立ち上げ業務が進行中であるエミクススタトのフェーズ2b/3実験の準備に向けた開発活動の増加に起因するものでありました。

**インライセンス** 2012年12月31日終了年度において、インライセンス臨床プログラムからの収益は、前年の12.6百万米ドルから14.5百万米ドルまたは115.8%増加し、27.1百万米ドルでありました。かかる変化は主に、2012年7月にフェーズ3臨床実験が開始された結果レバミピド・プログラムに基づく活動が大幅に増加したことに起因するものでありました。レバミピドのフェーズ3臨床実験の開始に関する2012年7月の大塚製薬からのマイルストーン支払い15.0百万米ドルも、当社の増収に寄与しました。

**VCM研究** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく3年にわたる15.0百万米ドル規模の提携研究開発プログラムからの収益は存在せず、同プログラムからの収益は2011年12月31日終了年度と比べて3.9百万米ドル減少する結果となりました。同プログラムはエミクススタト契約の条項に従い2011年に終了しました。

## 費用

### 研究開発

2012年12月31日終了年度の研究開発費は総額で約31.6百万米ドルであり、前年の24.2百万米ドルと比べて約7.4百万米ドルまたは30.7%の増加でありました。この増加は、レバミピド・プログラムおよびOPA-6566プログラムにおいてそれぞれフェーズ3およびフェーズ1/2の臨床実験を開始したことに関連する、それぞれ6.5百万米ドルおよび1.2百万米ドルの研究開発費の増加に起因するものでありました。この増加は、社内研究活動における0.6百万米ドルの減少により一部相殺されました。

先に表示したものに加え、当社は臨床プログラムおよび社内研究プログラムに関する財務情報も諸般の目的で作成しています。当社の臨床プログラムを構成するカテゴリは、エミクススタト (エミクススタト契約に基づくプログラム) を含む「専有技術」、ならびにレバミピド (最近解除されたレバミピド契約に基づくプログラム) およびOPA-6566 (緑内障契約に基づくプログラム) を含む「インライセンス」であります。社内研究は、主に当社のVCM化合物に関する創薬研究活動に付随する費用および経費から構成されます。

以下の表は、当社の臨床プログラムおよび社内研究プログラムのための研究開発費を示しています (単位: パーセンテージを除き、千米ドル)。

	12月31日終了年度			
	2011年	2012年	2011年から2012年 にかけての推移	2011年から2012年 にかけての推移 (%)
専有技術	13,285	13,707	422	3.2%
インライセンス	7,756	15,382	7,626	98.3%
社内研究	3,142	2,515	(627)	(20.0)%
計:	24,183	31,604	7,421	30.7%

**専有技術** 2012年12月31日終了年度において、エミクススタト契約に基づく臨床プログラムに関する費用は、前年の13.3百万米ドルと比べて0.4百万米ドルまたは3.2%増加し、13.7百万米ドルでありました。かかる変化は主に、エミクススタトのフェーズ2b/3実験の準備に向けた開発活動の増加に起因するものでありました。

**インライセンス** 2012年12月31日終了年度において、インライセンス臨床実験に関する研究開発費は、前年の7.8百万米ドルと比べて7.6百万米ドルまたは98.3%増加し、15.4百万米ドルでありました。かかる変化は主に、レバミピドおよびOPA-6566についてそれぞれフェーズ3およびフェーズ1/2の臨床実験が開始されたことに起因するものでありました。

**社内研究** 2012年12月31日終了年度において、社内研究活動における研究開発費は、前年の3.1百万米ドルと比べて0.6百万米ドルまたは20.0%減少し、2.5百万米ドルでありました。かかる減少は主に、研究実施のために社内の人材および資源の活用を増加させ、かかる取組みの支援のためのアウトソーシング契約への依存度を下げたことに起因するものでありました。

**一般管理費** 2012年12月31日終了年度の一般管理費は、前年の6.2百万米ドルと比べて約1.6百万米ドルまたは26.1%増加し、総額で約7.8百万米ドルでありました。かかる増加は主に、人員の増加および株式ベース報酬の費用を増加させる当社株式の株価上昇に起因する報酬および給付の支出の増加約1.2百万米ドル、ならびに当社の増収の結果としての国および地方の事業および営業税の増加分約0.3百万米ドルによるものでありました。

**法人税ベネフィット (費用)** 2011年には2.5百万米ドルの法人税ベネフィットが計上されたのに対し、2012年には2.6百万米ドルの法人税費用が計上されました。これは、2011年および2012年のそれぞれの実効税率(65.0%)および38.8%を反映したものであります。2012年の米国の連邦法定税率34.0%と当社における実効税率の差は主に、会計上の利益および課税所得の差に起因するものであり、いずれも単体として重要性を有するものではありませんでした。2011年の法定税率および実効税率の差は主に、繰延税金資産に対する評価性引当金の取崩しから生じたベネフィットに起因するものでありました。

(5) 当社の業績に重大な影響を及ぼす可能性のある要因

#### 当社の事業および産業に関連するリスク

当社は商業販売の承認を受けた製品を有していません。

大塚製薬との提携による研究開発活動からの収益およびエミクススタト契約に基づく開発費用の当社負担分についての、大塚製薬による資金提供は、2012年12月31日終了年度および2013年9月30日に終了した9か月間における当社の全収益に該当し、これらの収益の喪失は当事業に対し悪影響を及ぼします。

当社の長期展望は当社の製品候補に依存しており、これらが臨床実験、規制承認または商業化において成功するという確証はありません。

将来において臨床実験が成功したとしても、当社が提携契約の下、最善の商業化戦略を追求しない場合、当社の成長展望は悪影響を受け、事業を縮小または停止する必要性が生じる可能性があります。

医薬品市場は競争が非常に激しいものであります。当社がいずれかの製品候補について承認を取得することに成功したとしても、既存の医薬品、新たな治療法および新たな技術に対して効果的に競争することができない可能性があります。

エミクススタトおよび将来当社が開発するその他の製品の市場受け入れは限定されたものである可能性があります。

当社が計画する販売およびマーケティング機能の構築は、多大な資源を必要とし、当社が期待する利益を生じさせない可能性があります。

当社は製品候補ポートフォリオの拡大努力において成功しない可能性があります。

第三者製造者に対する依存は、当社の臨床実験および製品導入を遅延させる可能性があります。

当社は当社の経営陣、特に当社の創業者であり最高経営責任者である窪田良氏に依存しており、主要な経営陣および科学者を維持しその意欲を引き出すことができない場合、当社の医薬品開発プログラムは遅延する可能性があり、成功裏に製品候補を開発または商業化することができない可能性があります。

将来における当社の人員削減は、当社の継続的な従業員のパフォーマンスに影響を及ぼす可能性があり、主要な職員による役務の維持を困難にする可能性があります。

当社が開発する製品のいずれかが、第三者による還付金制度、好ましくない価格規制または医療改革イニシアチブの対象となる場合、当社の事業は損なわれるおそれがあります。

当社の商業化目標を達成するため、当社の組織規模を拡大する必要がありますが、当該成長の管理において当社は困難に直面する可能性があります。

当社は製造物責任請求のリスクに直面し、これに対する保険を取得できず、多大な偶発債務を負う危険にさらされる可能性があります。

## 規制リスク

当社は、当社の開発努力から生じる、エミクススタトおよびOPA-6566を含むいずれの製品についても規制承認を得ることができないおそれがあります。これらの承認を得られないことは、当社事業に重大な損害をもたらす可能性があります。

ドライ型黄斑変性（地図状萎縮）についてのエミクススタトの開発の「ファスト・トラック」指定は、実際にはより迅速な規制審査または承認プロセスにつながらない可能性もあります。

当社の製品が承認された場合において、当社が規制要件の遵守を怠った、または製品について問題が発生した場合、当社製品は制限または市場からの回収の対象となり、また当社は処罰の対象となる可能性があります。

外国管轄における規制承認取得の失敗は、当社が米国外において製品を販売することを阻害します。

## 知的財産および他の法的事項に関連するリスク

当社製品に関連する知的財産の専有性の保護のための努力が十分でない場合、当社は市場において効果的に競争することができない可能性があります。

当社がその専有情報およびノウハウの秘密性を保護できないとすれば、当社の技術および製品の価値は悪影響を受ける可能性があります。

知的財産侵害に関する第三者からの請求は、エミクススタおよび当社の他の製品候補に関連した当社の発見、開発および商業化努力を阻害または遅延する可能性があります。

当社の特許および当社ライセンサーの特許を保護または強制するため、当社は訴訟に関与する可能性があり、多額の費用、多大な時間が必要となる可能性があり、また敗訴する可能性もあります。

当社が有害または生物物質を、傷害を生じさせるまたは適用法に違反する態様により使用した場合、当社は賠償義務を負う可能性があります。

## 当社の財務結果および資金需要に関するリスク

当社の過去の業績は、将来の収益性または成長を示すものではない可能性があり、当社は収益性または成長の維持または増加を継続することができない可能性があります。

当社の業績は将来的に変動する可能性があり、これにより当社の株価は下落する可能性があります。

当社は追加的な資金を必要とする可能性があり、その取得が難しい可能性があります。必要な資金調達の失敗またはこれを不利な条件で行うことは、当社の開発プログラムおよび他の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

当社は「新興企業」であり、新興企業に適用される軽減された財務報告義務要件にのみ従うとの当社の決定は、投資家にとっての当社株式の魅力を減少させる可能性があります。

### (6) 課題に対する経営陣の認識および将来の指針

当社の事業の目的は、視力を脅かす眼疾患を治療する新しい治療薬の特定、創薬または取得ならびに商業化であります。当社の戦略の主要な要素は以下のとおりです。

- ・ 大塚製薬との提携による製品候補の開発
- ・ 市場におけるVCMの利点についての啓蒙活動
- ・ 内部調査および追加的なパートナーシップを通じた眼科製品パイプラインの拡大の継続
- ・ 製品候補の開発および商業化の促進
- ・ 当社インフラ拡大の継続

詳細は、「第2 企業の概況 - 3 . 事業の内容 - 戦略」をご参照ください。

## 第4【設備の状況】

### 1【設備投資等の概要】

2010年において、当社は、主にシアトルのオフィスへの移転に関連し、約630千米ドルのリース物件改良を行いました。2011年および2012年12月31日終了年度においては、このような個別の多額設備投資は行われませんでした。2011年および2012年12月31日に終了した年度における設備投資の合計は、それぞれ166千米ドルおよび326千米ドルでありました。

### 2【主要な設備の状況】

当社は現在、ワシントン州シアトルの中心街に、本社として約21,000平方フィートのオフィス・スペースを占有しています。当社の研究開発活動は、ワシントン州ボセルに位置する17,000平方フィートの研究施設で行われています。いずれの施設も、2015年2月に終了する解約不能リース契約に基づき占有されています。当社は、かかるスペースが、当社の現在のニーズに適しており、近い将来における当社の事業の拡大に対応する研究施設を含む追加的または代替的なスペースを獲得することも可能であると考えております。

### 3【設備の新設、除却等の計画】

該当事項はありません。



## 第5【提出会社の状況】

### 1【株式等の状況】

#### (1)【株式の総数等】

##### 【株式の総数】

(提出日現在)

授権株数(株)		発行済株式総数(株)	未発行株式数(株)
普通株式	60,000,000	11,971,728 (26,421,959) <sup>(1)</sup>	48,028,272 <sup>(2)</sup> (33,578,041)
優先株式	52,452,514	32,441,604	20,010,910

- (1) すべての発行済優先転換株式の当社普通株式10,813,867株への自動転換および当社普通株式3,636,364株に転換される条件付転換債務のシリーズC優先転換株式への自動転換を前提とした株数です。すべての転換は、本募集の完了において有効となります。
- (2) 上表における普通株式の数は、優先株式もしくは条件付転換債務の転換またはストック・オプションの行使により発行される可能性のある普通株式を含みます。現在、2012年エクイティ・インセンティブ・プランからの移管分および300,000株の普通株式が、当社の2013年エクイティ・インセンティブ・プラン(毎年自動的に株式数を増加する条項を含みます。)に基づく発行のために留保されています。
- (3) 当社株主は、当社普通株式の東京証券取引所のマザーズ市場への上場日(当日を含みます。)から90日間(役員株主の場合は180日間)(以下「ロックアップ期間」といいます。)は三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による事前の書面による同意なしに以下を行わないまたは行わせない旨同意しております。
- (a) ロックアップ期間より前に、当該株主が株主名簿上または実質上保有しており、かつ当該株主が処分権限を持つ、当社普通株式の売却または譲渡
- (b) (i) 当社普通株式に転換もしくは交換できる有価証券の売却または譲渡  
(ii) 当社普通株式を取得する権利を表章する有価証券の売却または譲渡  
(iii) 当社普通株式の保有によって得られる金融利益の全部もしくは一部または当社普通株式の全部もしくは一部を直接または間接的に第三者に譲渡するスワップまたはその他の契約の締結
- (c) 上記のいずれかを実行する意向もしくは合意の公告または発表

さらに、米国証券法を確実に遵守するため、当社株主は、ロックアップ期間の終了後は米国証券法に基づき提出される登録届出書類に従った場合または米国証券法に基づくルール144に従った場合にのみ上記の取引を行うまたは行わせることができる旨同意しております。

当社は、当社普通株式の東京証券取引所のマザーズ市場への上場日(当日を含みます。)から180日間は、三菱UFJモルガン・スタンレー証券株式会社による事前の書面による同意なしに、(a) 当社普通株式を発行、売却または譲渡せず、(b) 当社普通株式に転換もしくは交換できる有価証券または当社普通株式を取得する権利を表章する有価証券を発行、売却または譲渡せず、当社普通株式の所有によって得られる金融利益の全部もしくは一部または当社普通株式の全部もしくは一部を直接または間接的に第三者に譲渡するスワップまたはその他の契約を締結せず、かつ(c) 上記(a) または(b) のいずれかを実行する意向もしくは合意の公告または発表を行わない旨(本募集にかかる当社普通株式の発行および売却、発行済みのオプションの行使や転換証券の転換に基づく当社普通株式の発行、既存の従業員ベネフィットプランに基づく役員・従業員に対する当社普通株式またはオプションの付与等を除く。)を同意しております。

## 【発行済株式】

(提出日現在)

記名・無記名の別及び額面・無額面の別	種類	発行数(株)	上場金融商品取引所名又は登録認可金融商品取引業協会名	内容
記名式無額面株式	普通株式 <sup>(2)</sup>	11,971,728	該当なし	-
記名式無額面株式	シリーズA優先転換株式 <sup>(1)</sup>	2,734,334	該当なし	3:1の比率で普通株式に転換可能。
記名式無額面株式	シリーズB優先転換株式 <sup>(1)</sup>	17,899,998	該当なし	3:1の比率で普通株式に転換可能。
記名式無額面株式	シリーズC優先転換株式 <sup>(1)(3)</sup>	11,807,272	該当なし	条件付転換債務を除く。 3:1の比率で普通株式に転換可能。

- (1) シリーズA、BおよびC優先転換株式は、本募集の完了において自動的に当社普通株式に転換されます。
- (2) 上表における普通株式の数は、優先株式もしくは条件付転換債務の転換またはストック・オプションの行使により発行される可能性のある普通株式を含みません。現在、2012年エクイティ・インセンティブ・プランからの移管分および300,000株の普通株式が、当社のエクイティ・インセンティブ・プラン(毎年自動的に株式数を増加する条項を含みます。)に基づく発行のために留保されています。本書提出日現在、普通株式696,876株が、発行済かつ行使可能なストック・オプションの行使において、7.21米ドルの加重平均行使価格により発行される可能性があります。
- (3) 上表におけるシリーズC優先転換株式の数は、以下の条件付転換債務の行使により発行可能な株式を含みません。

保有者	元本 (米ドル)	現在の利率 (%)	満期日	2012年1月以降に	提出日現在の残高 (米ドル)
				支払われた利息 (米ドル)	
SBIバイオ・ライ フサイエンス投資 事業有限責任組合	5,500,000	0.94	2014年 2月28日	358,329	5,564,281
SBIブロードバン ドファンド1号投 資事業有限責任組 合	2,015,010	0.84	2014年 8月31日	19,143	2,031,922
SBIビービー・モ バイル投資事業有 限責任組合	624,840	0.84	2014年 8月31日	5,936	630,081
SBIフェニックス 1号投資事業有限 責任組合	610,150	0.84	2014年 8月31日	5,796	615,273
SBIビービー・メ ディア投資事業有 限責任組合	3,250,000	0.84	2014年 6月30日	30,875	3,277,267
<b>合計</b>	<b>12,000,000</b>				<b>12,118,824</b>

本募集の完了においてかかるすべての条件付転換債務の転換により発行される可能性のあるシリーズC優先株式は、同時に当社の普通株式3,636,364株に転換されます。

## (2) 【発行済株式総数及び資本金の推移】

(提出日現在)

年月日	発行済株式総数 (株)		資本金 (米ドル (日本円))		摘要
	増減数	残高	増減額	残高	
2008年2月4日	100	43,871,899	145.00 (14,853)	30,219,538 (3,095,689,472)	ストック・オプション行使
2008年9月28日	292	43,872,191	423.40 (43,373)	30,219,962 (3,095,732,907)	ストック・オプション行使
2009年3月12日	4,200	43,876,391	6,090.00 (623,859)	30,226,052 (3,096,356,766)	ストック・オプション行使
2009年3月31日	3,225	43,879,616	1,999.50 (204,828)	30,228,051 (3,096,561,544)	ストック・オプション行使
2009年4月21日	50,000	43,929,616	6,000.00 (614,640)	30,234,051 (3,097,176,184)	ストック・オプション行使
2009年4月21日	50,000	43,979,616	31,000.00 (3,175,640)	30,265,051 (3,100,351,824)	ストック・オプション行使
2009年6月11日	10,000	43,989,616	6,200.00 (635,128)	30,271,251 (3,100,986,952)	ストック・オプション行使
2009年6月25日	5,000	43,994,616	2,500.00 (256,100)	30,273,751 (3,101,243,052)	ストック・オプション行使
2009年8月27日	136,100	44,130,716	439,603.00 (45,032,931)	30,713,354 (3,146,275,983)	窪田良氏との雇用契約
2009年10月6日	16,775	44,147,491	10,400.50 (1,065,427)	30,723,755 (3,147,341,462)	ストック・オプション行使
2009年10月9日	2,000	44,149,491	1,000.00 (102,440)	30,724,755 (3,147,443,902)	ストック・オプション行使
2009年10月29日	100	44,149,591	145.00 (14,853)	30,724,900 (3,147,458,756)	ストック・オプション行使
2010年3月30日	10,000	44,159,591	6,200.00 (635,128)	30,731,100 (3,148,093,884)	ストック・オプション行使
2010年3月31日	50,000	44,209,591	31,000.00 (3,175,640)	30,762,100 (3,151,269,524)	ストック・オプション行使
2010年5月19日	10,000	44,219,591	1,200.00 (122,928)	30,763,300 (3,151,392,452)	ストック・オプション行使
2010年5月19日	10,000	44,229,591	6,200.00 (635,128)	30,769,500 (3,152,027,580)	ストック・オプション行使
2010年5月28日	106,000	44,335,591	550,140.00 (56,356,341)	31,319,640 (3,208,383,921)	窪田良氏との雇用契約
2011年3月31日	3,000	44,338,591	4,350.00 (445,614)	31,323,990 (3,208,829,535)	ストック・オプション行使
2011年11月18日	2,278	44,340,869	18,770.72 (1,922,872)	31,342,760 (3,210,752,334)	窪田良氏との雇用契約
2012年2月29日	188	44,341,057	975.72 (99,952)	31,343,736 (3,210,852,315)	ストック・オプション行使
2012年5月25日	196	44,341,253	1,822.80 (186,727)	31,345,559 (3,211,039,063)	窪田良氏との雇用契約
2012年9月22日	100	44,341,353	323.00 (33,088)	31,345,882 (3,211,072,152)	ストック・オプション行使
2012年11月9日	5,000	44,346,353	600.00 (61,464)	31,346,482 (3,211,133,616)	ストック・オプション行使
2012年11月15日	104	44,346,457	1,074.32 (110,053)	31,347,556 (3,211,243,636)	窪田良氏との雇用契約
2012年12月31日	5,204	44,351,661	53,757.32 (5,506,899)	31,401,314 (3,216,750,606)	窪田良氏との雇用契約

2013年1月11日	20,000	44,371,661	2,400.00 (245,856)	31,403,714 (3,216,996,462)	ストック・オプション行使
2013年2月15日	20,816	44,392,477	215,029.28 (22,027,599)	31,618,743 (3,239,024,032)	窪田良氏との雇用契約
2013年4月9日	10,000	44,402,477	1,200 (122,928)	31,619,943 (3,239,146,960)	ストック・オプション行使
2013年5月1日	219	44,402,696	1,804.56 (184,859)	31,621,748 (3,239,331,865)	ストック・オプション行使
2013年5月31日	10,636	44,413,332	241,330.84 (24,721,931)	31,863,079 (3,264,053,812)	窪田良氏との雇用契約

2008年1月1日から本書提出日までの間において発行された株式は541,533株でした。本書提出日現在の資本金の合計は、31,863千米ドルでした。

2008年1月1日以降、優先株式の総数および総額に変更はありませんでした。

### (3) 【所有者別状況】

区分 <sup>(1)</sup>	株主数(人)	株式数(株)	(提出日現在)
			発行済株式数に対する割合 (%)
ベンチャー・キャピタル	20	9,297,372	35.2
役員および取締役 <sup>(2)</sup>	1	11,620,654	44.0
その他の法人	10	4,849,828	18.4
個人その他	26	654,105	2.5
合計	57	26,421,959	100

- (1) すべての発行済優先転換株式の当社普通株式10,813,867株への自動転換および当社普通株式3,636,364株に転換される条件付転換債務のシリーズC優先株式への自動転換を前提とした数値に基づいています。すべての転換は、本募集の完了において有効となります。
- (2) 本項における数値は、ストック・オプションおよびかかるオプションの行使において発行される株式を保有する役員および取締役を含みません。

### (4) 【大株主の状況】

下表は、すべての発行済優先株式および条件付転換債務が本書提出日に普通株式に転換され、さもなければ本募集の完了において自動的に転換されることを前提とした、本書提出日現在の当社の普通株式の保有についての情報であります。

株式数および適用ある保有割合は、26,421,959株(本書提出日現在に発行済の11,971,728株、すべての発行済優先株式の転換により発行される10,813,867株およびすべての発行済条件付転換債務の転換により発行される3,636,364株)に基づくものであります。発行済ストック・オプションの行使により発行される株式はいずれも発行済とはみなされず、オプションを保有する下表における者に保有されているとみなされません。

(提出日現在)

氏名又は名称	住所	所有株式数 (株)	発行済株式総数に対する 所有株式数の割合 (%)
窪田良	1301 Second Avenue, Suite 1900, Seattle, Washington 98101	11,620,654	44.0
大塚製薬株式会社	〒101-8535 東京都千代田区神田司町2-9	1,888,011	7.1
SBIバイオ・ライフサイエ ンス投資事業有限責任組合	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	1,871,250	7.1
バイオビジョン・ライフサ イエンス・ファンド1号	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	1,777,778	6.7
株式会社大塚製薬工場	〒772-8601 徳島県鳴門市撫養町 立岩字芥原115	1,515,152	5.7
SBIビービー・メディア投 資事業有限責任組合	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	1,257,252	4.8
ソフトバンク・インターネッ トファンド	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	1,111,111	4.2
SBIブロードバンドファン ド1号投資事業有限責任組 合	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	779,502	3.0
SBIインキュベーション株 式会社	〒106-6019 東京都港区六本木1-6-1 泉ガーデンタワー19階	374,817	1.4
Japan New Technology 2号 投資事業組合	〒141-0021 東京都品川区上大崎2-15-19-720	272,727	1.0
株式会社ブレンスタッフ コンサルタンツ	〒542-0082 大阪府大阪市中央区 島之内1-10-15	266,667	1.0
合計	-	22,734,921	86.0

(1) SBIグループ会社により保有または支配される株式およびSBIグループ会社により管理される投資ファンドが考慮される場合、SBIグループの保有割合の総計は29.3%となります。

## 2【配当政策】

当社は、当社の株主資本に対する現金配当を発表したことも支払ったこともなく、当面は、将来的に現金配当を支払う意向もありません。当社は、当社の発展および成長のためにすべての調達可能な資金および将来の利益を獲得する意向であります。全ての配当は、当社の取締役会による承認の対象となります。当社の将来における株主資本に対する現金配当の支払いの取締役会による決定は、当社の業績、財務状況、流動性要件、適用ある法律または契約により課される制限ならびに当社の取締役会がその独自の裁量によって配当の発表に関連があると判断するあらゆるその他の要因により影響を受けます。

## 3【株価の推移】

該当事項はありません。

## 4【役員状況】

(提出日現在)

氏名	年齢 (生年月日)	役職	任期	保有株式数
窪田良	47歳 (1966年10月18日)	会長、社長兼最高経営責任者、取締役	2014年	11,630,654株 <sup>(4)</sup>
デヴィッド・L・ローランス (David L. Lowrance)	46歳 (1967年10月6日)	最高財務責任者、会計責任者および秘書役	該当なし	40,580株 <sup>(5)</sup>
ヘン・デ・ヤング (Hien DeYoung)	50歳 (1963年8月8日)	人事担当副社長	該当なし	51,200株 <sup>(6)</sup>
ピーター・A・クレセル (Peter A. Kresel) <sup>(2)(3)</sup>	70歳 (1943年8月12日)	取締役	2014年	20,000株 <sup>(7)</sup>
グレン・Y・サトウ (Glen Y. Sato) <sup>(1)(2)(10)</sup>	54歳 (1959年3月26日)	取締役	2014年	40,000株 <sup>(8)</sup>
マイケル・シュツラー (Michael Schutzler) <sup>(3)(10)</sup>	51歳 (1962年1月6日)	取締役	2014年	11,250株 <sup>(9)</sup>
ブライアン・オカラガン (Brian O'Callaghan) <sup>(1)(10)</sup>	44歳 (1969年6月1日)	取締役	2014年	-

(1) 監査委員会委員であります。

(2) 報酬委員会委員であります。

(3) 指名委員会委員であります。

(4) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される10,000株の普通株式を含みます。

(5) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される40,580株の普通株式を含みます。

(6) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される51,200株の普通株式を含みます。

(7) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される20,000株の普通株式を含みます。

(8) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される40,000株の普通株式を含みます。

(9) 現在または2013年12月27日から60日以内に行使可能なオプションの行使により発行される11,250株の普通株式を含みます。

(10) 独立取締役であります。

窪田良氏 (医学博士、Ph.D.) は、当社の創業者であり、2002年6月から当社の社長兼CEOおよび取締役を務めており、2005年4月から会長を務めています。さらに、2002年6月から2006年8月までは会計責任者、2002年6月から2002年9月、2002年11月から2006年8月ならびに2007年3月から2011年7月まで秘書役も務めました。Acucela Inc.を創業する前、窪田氏は眼科学分野で活動しており、慶應義塾大学において教員を務めた他、ワシントン大学の医学部において助教授として勤務しました。窪田氏は、慶應義塾大学において医学博士号およびPh.D.を取得しております。窪田氏は、1996年に日本眼科医会による眼科専門医の資格を取得し、米国眼科学会 (AAO)、視覚眼科学会 (ARVO) および日本眼科学会の会員を務めています。2008年以降、窪田氏はワシントン州の日米協会の理事を務めています。当社は、窪田氏が当社の社長兼CEOおよび創業者として、歴史的知識、科学的統率力、眼科産業における専門知識、提携における統率力および継続性とともにもたす視点および経験に基づき、同氏が当社の会長を務めるべきであると確信しています。

デヴィッド・L・ローランス氏は、2011年4月から、当社の最高財務責任者を務めており、2011年7月から、秘書役および会計責任者を務めています。Acucela Inc.に入社する以前は、2003年3月から2011年4月まで、上場している製薬会社であるCumberland Pharmaceuticals Inc.において副社長兼最高財務責任者を務めました。1994年から2003年にかけて、同氏はBorgWarner Inc.およびIcore International, Inc.を含むグローバル企業において財務および会計における上級役職に携わりました。それ以前、ローランス氏は、アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーにおいて会計士を務め、複数のヘルスケア、製造、不動産および非営利組織等のクライアントを担当しました。ローランス氏は、ジョージア大学において経営学士号を取得し、公認会計士の資格も有しています。

ヘン・デ・ヤング氏は、2011年7月から当社の人事担当副社長を務めています。同氏は、2009年3月から2011年6月まで、当社の人事担当シニアディレクターを務めました。当社に入社する前、デ・ヤング氏は2006年6月から2009年2月まで、自身のコンサルティング・サービス会社であるDeYong Consultingにおいて、ライフサイエンスおよび医療機器企業のCEOおよび創業者に対する人事関連のコンサルティング・サービスを提供していました。1998年11月から2006年4月まで、同氏は、代謝性疾患の治療に焦点を当てた小分子関連の会社であるCEPTYR, Inc.において人事および総務部のディレクターを務めていました。それ以前は、同氏はソフトウェア製造、採鉱および法律業界において総務担当の役職を務めていました。同氏は、2004年に上級専門職人事管理認定証 (Senior Professional In Human Resources (SPHR) certification) を取得しており、予測指標評価アナリスト (Certified Predictive Index Assessment Analyst) の資格も有しています。

ピーター・A・クレセル氏は、2007年8月から当社の取締役を務めています。同氏はまた、2005年から継続して当社に対するコンサルティング・サービスを提供しています。クレセル氏は、複数の専門分野を有するヘルスケア企業であるアラガン社において、国際薬事規制担当上級副社長として13年間務めた後、2006年に退社しました。アラガン社に入社する前、同氏は、Bristol-Myers Squibb Companyにおいて国際薬事規制担当役員を務めました。クレセル氏は、シラキュース大学において微生物学の理学士号を取得し、シラキュース大学のユニバーシティ・カレッジでマーケティングの経営学修士号を取得しました。当社は、大規模製薬会社における上級管理職としての経験および眼科用製品に対する薬事規制に関する幅広い知識に基づき、クレセル氏が当社の取締役を務めるべきであると確信しています。

グレン・Y・サトウ氏は、2009年8月から当社の取締役を務めています。サトウ氏は、2006年から、法律事務所であるCooley LLPでパートナーを務めています。2003年から2006年において、サトウ氏は、バイオ製薬会社であるPDL BioPharma Inc. (旧 Protein Design Labs, Inc) において上級副社長および最高財務責任者を務めていました。1999年から2003年において、サトウ氏は、ゲノムに基づく医薬品開発会社であるExelixis, Inc.において最高財務責任者およびゼネラル・カウンセラーを務めました。サトウ氏は、ウェズリアン大学のカレッジ・オブ・ソーシャルスタディーズにおいて経営学の学士号を取得し、カリフォルニア大学ロサンゼルス校において法学博士号および経営学修士号を取得しました。2003年5月から、サトウ氏は、Intarcia Therapeutics, Inc.において取締役を務めています。当社は、製薬会社の上級管理職としての経験およびそれら企業の財務機能を牽引する同氏の経験に基づき、サトウ氏が当社の取締役を務めるべきであると確信しています。

マイケル・シュツラー氏は、2012年5月から当社の取締役を務めています。2013年8月から、シュツラー氏は、北米の技術企業団体であるワシントン州テクノロジー産業協会のCEOを務めています。シュツラー氏は、オンライン語学学習サイトである Livemocha, Inc. のCEOおよび取締役を、2010年6月からかかるサイトがRosetta Stoneに買収された2013年4月まで務めていました。2007年4月から、シュツラー氏は、自身の会社であるCEOsherpa LLCを通じて統率力を発揮し、ビジネスコンサルティングを提供しており、1998年から2012年までDigital Forest Inc.において取締役を務め、2008年から2010年まではTalent Spring Inc.において取締役を務めました。2003年7月から2007年3月まで、シュツラー氏は、デジタルメディア製品会社である RealNetworks, Inc. の上級副社長でありました。2003年2月から2004年7月まで、シュツラー氏は、オンライン求人会社である Monster Worldwide, Inc. の上級副社長でありました。2000年9月から2002年9月まで、同氏は、オンライン・ソーシャル・ネットワークであるClassmates.com (現Classmates Media Corporation) のCEOでありました。2007年3月から、シュツラー氏は、オンラインビデオゲーム会社であるFlowPlay Inc. の取締役を務めています。2010年1月から、シュツラー氏は、ワシントン大学のマイケル・G・フォスター・スクールオブビジネスのイノベーション・アンド・アントレプレナーシップ・センターにおいてアドバイザー・ボードのメンバーを務めています。シュツラー氏は、ペンシルベニア州立大学において理学士号を取得し、ロチェスター大学において経営学修士号を取得しています。当社は、同氏の上級管理職としての経験ならびに商業およびビジネス開発の経験に基づき、シュツラー氏が当社の取締役を務めるべきであると確信しています。

ブライアン・オカラガン氏は、2013年9月から当社の取締役を務めています。オカラガン氏は現在、Sangart Inc. の社長兼 CEO および同社取締役会のメンバーです。それ以前はNPS Pharmaceuticals, Inc. の最高商務責任者として重要な企業戦略イニシアチブを発揮し、またCovance Inc. ではゼネラルマネジャーを務め2つの中核事業領域の再編および再建を成功に導きました。Novartis Pharmaceuticals Corporationでは、移植・免疫担当ないし感染症・移植・免疫担当の北米ゼネラルマネジャーとしていくつかの有力製品の上市、インライセンス取引および主要成長事業に尽力しました。同氏はスイスでバイオ製薬会社のBioPartnersを共同設立し、Merck Biopharmaceuticalsでゼネラルマネジャーを務め、またPfizerではアイルランドおよび英国でならびにBayerではアイルランドで様々な管理職を経験しました。同氏はヘンリー・カレッジ・オブ・ビジネス・マネジメントでMBAおよびコーク・リージョナル・カレッジ/マーケティング・インスティテュート・オブ・アイルランドでマーケティング・ディプロマを取得しています。同氏は現在BIOCOM, Aquavit BiopharmaおよびSan Diego Century Club等で複数の取締役ないし理事の役職に就いています。当社は、オカラガン氏の製薬会社における上級管理職としての経験ならびに製薬会社の運営および商業化の経験に基づき、同氏が当社の取締役を務めるべきであると確信しています。

当社の執行役員は、当社の取締役会の判断により選任され、任務を果たします。当社の取締役および役員において、家族関係はありません。

## 役員報酬

「第5 提出会社の状況 - 5 . コーポレート・ガバナンスの状況等 (1) コーポレート・ガバナンスの状況 - 役員報酬」をご参照ください。

## 5【コーポレート・ガバナンスの状況等】

### (1)【コーポレート・ガバナンスの状況】

## 取締役会の構成

当社の修正再表示済み付属定款に基づき、当社の取締役会は、授権された取締役の人数を設定することができます。当社の取締役会は現在5名で構成されています。現在の取締役会のメンバーは、かかる者が辞任するまでまたは後継者が当社普通株式の保有者により正式に選任されるまで、取締役を務めます。

当社の株主による各年次総会において、かかる総会において任期が満了する取締役の後継者が選任され、かかる後継者は、選任後の年次総会までまたはかかる者の後継者が選任されるまで、取締役を務めます。



## 取締役の独立性

本募集の完了において、当社の普通株式は、東京証券取引所のマザーズ市場に上場されます。よって、当社の普通株式は、米国の証券取引所または業者間相場システムにおいては上場されません。これらの状況下において、米国証券取引委員会（以下「SEC」といいます。）の規則は、取締役の過半数が独立していなければならないという米国の証券取引所または業者間相場システムによる独立性の定義を用いて、当社の取締役のうち独立した取締役の特定をしなければならないと規定しています。各取締役に対して要求され提供された経歴、雇用および家族関係を含む当社、当社の経営陣および当社の独立公認会計事務所との関連性に関する情報に基づき、当社の取締役は、サトウ氏、シュツラー氏およびオカラガン氏の3名のみが、ニューヨーク証券取引所（以下「NYSE」といいます。）の設定する基準に基づく独立取締役であると決定づけました。

## 取締役会の委員会

当社の取締役会は、監査委員会、報酬委員会および指名委員会を設立しました。各委員会の構成は、以下のとおりであります。本募集の完了の後、各委員会の憲章の写しは、Acucela Inc., 1301 Second Avenue, Suite 1900, Seattle, Washington 98101, Investor Relations宛に書面による依頼を送付することにより、または当社ウェブサイト：[www.acucela.com](http://www.acucela.com)のインベスター・リレーションズに関するページにて入手可能であります。これらの委員会のメンバーは、かかる者が辞任するまでまたは当社の取締役会にてその他の決定がなされるまで、メンバーを務めます。

## 監査委員会

当社の監査委員会は、監査委員会委員長であるグレン・サトウ氏およびブライアン・オカラガン氏により構成されています。当社の監査委員会の構成および責任は、NYSEおよびSECの適用ある規則および規定に基づく独立性要件を満たしています。さらに、当社の取締役会は、グレン・サトウ氏が、米国証券法に基づく規制S-Kの項目407(d)の意義の範囲内における監査委員会財務専門家であると決定づけました。独立公認会計事務所から当社に提供されるすべての監査業務および許容されるすべての非監査業務は、当社の監査委員会により事前に承認されます。当社の監査委員会は、当社のウェブサイトに掲載される監査委員会の修正再表示済み憲章を提案し、取締役会はそれを承認しました。当社の監査委員会は、とりわけ以下についての責任を有します。

- ・ 当社の財務書類を監査する独立公認会計事務所を選択し、独立公認会計事務所に対する報酬を決定します。
- ・ 独立公認会計事務所の独立性の確保に協力します。
- ・ 独立公認会計事務所とともに監査の範囲および結果について議論し、経営陣および独立会計士とともに当社の半期および年次業績、財務書類、会計および財務報告プロセスならびに財務書類の完全性を検討します。
- ・ 疑問の余地がある会計または監査に関する問題につき従業員が匿名で懸念事項を提出できる手段を設立します。
- ・ 経営陣と独立公認会計事務所との間の異議を解決します。
- ・ 法的および規制要件の遵守および当社が採用した倫理規範の遵守を監督します。
- ・ 財務および会計に関する当社の内部統制の適正性を検討します。
- ・ リスク評価およびリスク管理に関する指針を議論します。
- ・ 独立公認会計事務所によるすべての監査および非監査業務を検討および承認（または許可されるとおり、事前承認）します。

## 報酬委員会

当社の報酬委員会は、報酬委員会委員長であるグレン・サトウ氏およびピーター・クレセル氏により構成されています。当社の報酬委員会の構成は、当社とのコンサルティング関係により、独立しているとみなされないクレセル氏を除き、NYSEおよびSECの適用ある規則および規定に基づく独立性要件を満たしています。報酬委員会の目的は、当社の執行役員の報酬に関連する当社の取締役会の責任を遂行することであり、当社の報酬委員会は、報酬委員会の修正再表示済み憲章（当社ウェブサイトに掲載される予定です。）を提案し、取締役会はそれを承認しました。当社の報酬委員会は、とりわけ以下についての責任を有します。

- ・ 当社の執行役員の報酬に関する検討、決定または取締役会への提案を行います。
- ・ CEOの実績を評価します。
- ・ 当社の株式およびエクイティ・インセンティブ・プランを管理します。

- ・ 会社目標および当社の執行役員の報酬に関連する目的を検討、承認し、かかる目標および目的に照らした執行役員の実績を評価します。
- ・ インセンティブ報酬およびエクイティ・プランに関し検討し、当社の取締役会に提案をします。
- ・ 当社の従業員の報酬および給付金に関連する一般的指針を設定および検討します。

### 指名委員会

指名委員会は、指名委員会委員長であるマイケル・シュツラー氏およびピーター・クレセル氏で構成されます。当社の指名委員会の構成は、当社とのコンサルティング関係により、独立しているといみなされないクレセル氏を除き、NYSEおよびSECの適用ある規則および規定に基づく独立性要件を満たしています。指名委員会は、指名委員会の修正再表示済み憲章（当社ウェブサイトに掲載される予定です。）を提案し、取締役会はそれを承認しました。当社の指名委員会は、とりわけ以下についての責任を有します。

- ・ 当社の取締役会およびその委員会の候補者を特定、評価および推薦します。
- ・ 当社の取締役会および個別の取締役の実績を評価します。
- ・ 取締役会およびその委員会の構成に関し検討し、当社の取締役会に提案をします。
- ・ 関連当事者間取引および提案される行動規範の権利放棄に関して検討します。
- ・ コーポレート・ガバナンスの履行および報告の適正性を評価します。
- ・ コーポレート・ガバナンスに関する事項に関して当社の取締役会に提案をします。

### 報酬委員会の兼職状況および内部関係者の関与

2012年において、当社の報酬委員会は、ピーター・クレセル氏およびグレン・サトウ氏によって構成されていました。当社の取締役会または報酬委員会のメンバーを務める執行役員を1名以上有するいかなる事業体の取締役会または報酬委員会のメンバーを務めている当社の執行役員はおりません。

当社は、当社の取締役のひとりであるピーター・クレセル氏との間における、2014年1月2日まで有効なコンサルティング契約の当事者となっています。かかる契約についての詳細は、以下「コンサルティング関係」をご参照ください。

### 取締役報酬

通常、当社は非従業員取締役に対して、現金および株式報酬の組合せによる報酬を提供しています。以下「コンサルティング関係」に記載されるとおり、クレセル氏は、当社に対するコンサルティング・サービスの提供に関し報酬を受領しています。当社は、各独立取締役に対して、年間固定で7,500米ドルおよび委員会委員長を務める者には2,500米ドルを支払っています。

当社の慣行では、当社の独立取締役が取締役会に加わった際に、初回のオプション・パッケージを提供し、12か月以上取締役を務めたあと、年次のオプション付与を行っています。2012年5月、当社は、グレン・サトウ氏に対し、当社の普通株式12,500株を購入するオプションにより構成される年次オプションを提供しました。2012年5月、当社は、マイケル・シュツラー氏の初回オプション・パッケージの一環として、当社の普通株式20,000株を購入するオプションを同氏に付与しました。各オプションの付与は、1株当たり9.30米ドルの行使価格による2002年ストック・オプションおよび制限付株式プラン（以下「2002年プラン」といいます。）に基づくものであります。サトウ氏のオプション報酬は、当社の年次オプション付与の慣行に基づき、権利確定開始日（5,000オプションについては2012年1月11日および7,500オプションについては2012年5月16日）から1年間にわたり毎月同等に権利が確定します。当社の新たな非従業員取締役に対する慣行に基づき、シュツラー氏のオプション報酬は、確定開始日（シュツラー氏の場合は2012年5月24日）から4年間にわたり、毎月同等に権利が確定します。

非従業員取締役は、その他のいかなる形式による報酬、手当または給付金も受領しませんが、旅費、食費およびその他費用を含む会議出席のための実費は払戻されます。以下の表は、2012年12月31日終了年度において、非従業員取締役に対して付与もしくは支払われたまたは非従業員取締役により獲得された報酬に関する情報であります。2012年において当社の唯一の取締役であった窪田氏に対して支払われたすべての報酬は、以下「役員報酬 - 報酬の概要」における表に示されています。

(米ドル)

(1) 氏名	現金により獲得された または支払われた金額	オプション・ アワード (2)	その他すべての報酬	合計
ピーター・A・クレセル	-	-	216,000 <sup>(3)</sup>	216,000
グレン・Y・サトウ	12,500	104,149	-	116,649
マイケル・シュツラー	10,000	134,335	-	144,335

(1) 当社の主要株主のひとりでありSBIの代表である北尾氏は、2012年12月31日現在当社の取締役でしたが、当社の取締役として報酬を受領していません。

(2) 当該欄の金額は、「第6 経理の状況 1. 財務書類」の注記13に記載されるとおり、FASB ASC Topic 718に基づき計算された、2012年において非従業員取締役役に付与されたストック・オプション・アワードの付与日における公正価値の総額であります。当社の普通株式の評価方法については、「第3 事業の状況 - 7. 財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析 - (1) 重要な会計方針および見積り」をご参照ください。

2012年12月31日現在、各非従業員取締役により保有される発行済ストック・オプション・アワードの対象である株式の総数は、以下のとおりであります。

氏名	発行済ストック・オプション・アワードに潜在する株式の総数
ピーター・A・クレセル	20,000
グレン・Y・サトウ	40,000
マイケル・シュツラー	20,000

(3) コンサルティング契約に基づきクレセル氏に支払われた金額を含みます。以下の「コンサルティング関係」をご参照ください。

## 役員報酬

### 報酬の概要

以下の表は、2012年12月31日終了年度において当社に提供されたすべての役員に関し、当社の指名執行役員に対して付与もしくは支払われたまたは非従業員取締役により獲得されたすべての報酬に関する情報を示しています。2012年における当社の指名執行役員には、2012年12月31日現在当社に役員を提供していた当社の主要な執行役員および2名の最も高い報酬を受けた執行役員（当社の主要な執行役員を除きます。）が含まれます。当社は、これらの執行役員を指名執行役員と称します。

### 報酬の概要

(米ドル)

氏名および主要な役職	給与 <sup>(1)</sup>	賞与	ストック・アワード <sup>(2)</sup>	オプション・アワード <sup>(3)</sup>	非株式インセンティブ・プラン報酬 <sup>(4)</sup>	その他すべての報酬	合計 <sup>(5)</sup>
窪田良 会長、社長兼CEO	485,000	100,000 <sup>(6)</sup>	56,654	-	320,100	107,359 <sup>(7)</sup>	1,069,113
デヴィッド・L・ローランス 最高財務責任者	289,800	16,000 <sup>(6)</sup>	-	376,801	93,200	89,098 <sup>(8)</sup>	864,899
ヘン・デ・ヤング 人事担当副社長	249,500	16,000 <sup>(6)</sup>	-	-	80,249	17,625 <sup>(9)</sup>	363,374

(1) 2013年1月29日、報酬委員会は、2013年1月1日を発効日として、以下の給与増額を承認しました。ローランス氏の給与は289,800米ドルから308,544米ドルに増額され、デ・ヤング氏の給与は249,500米ドルから259,512米ドルに増額されました。

(2) 当該欄における金額は、「第6 経理の状況 1. 財務書類」の注記13に記載されるとおり、FASB ASC Topic 718に基づき計算された、2012年において窪田氏に対して発行されたストック・アワードの付与日における公正価値の総額であります。当社の普通株式の評価方法については、「第3 事業の状況 - 7. 財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析 - (1) 重要な会計方針および見積り」をご参照ください。

- (3)当該欄における金額は、「第6 経理の状況 1.財務書類」の注記13に記載されるとおり、FASB ASC Topic 718に基づき計算された、2012年において指名執行役員に付与されたストック・オプション・アワードの付与日における公正価値の総額であります。当社の普通株式の評価方法については、「第3 事業の状況 - 7.財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析 - (1)重要な会計方針および見積り」をご参照ください。
- (4)当該欄における金額は、2012年において提供された役務に対する、当社のAcucelaインセンティブ・プログラムに基づく業績連動賞与の総額を示します。
- (5)当該欄における金額は、本表のその他欄において反映される報酬金額の合計を示します。
- (6)製品候補の一つに関し、主要な開発マイルストーンを達成した指名執行役員の功績に対して2012年9月に付与された変動賞与を示します。
- (7)当社と窪田氏との間の雇用契約に基づき、同氏による普通株式の購入のための資金を提供するための約束手形に基づく窪田氏の債務を履行するために当社から支払われた56,654米ドル(注記2をご参照ください。)、かかる支払いに関連する税金の支払いの総額32,495米ドル、保険料の支払い113,601米ドルならびに通勤費および交通費の払戻し4,609米ドルを示します。
- (8)移転賞与50,000米ドル、住宅手当13,500米ドル、保険料の支払い113,581米ドル、ローランス氏の住宅手当に関連する税金の支払いの総額7,408米ドルならびに通勤費および交通費の払戻し4,609米ドルを示します。
- (9)保険料の支払い113,016米ドルならびに通勤費および駐車場代の払戻し4,609米ドルを示します。

### 2012年エクイティ・アワード

2012年5月に、当社は、2002年プランに基づき、デヴィッド・ローランス氏に対し、1株当たり9.30米ドルの行使価格により67,900株の普通株式を購入するオプションを付与しました。かかるストック・オプションは、2013年4月23日において20%の権利が確定し、残りはその後4年間にわたり、同等の割合で毎年権利が確定します。

窪田氏との間の雇用契約に基づき、2012年において、窪田氏は当社の普通株式合計5,504株を総額56,654米ドルで購入しました。窪田氏の株式保有に関する取決めについては、以下「役員雇用に関する取決め - 窪田良」をご参照ください。かかる株式は、窪田氏が当社に役務を提供しなくなった場合において、当社がかかる株式を買戻す権利の対象となっています。当社がかかる株式を買戻す権利は、役務を提供した3か月毎に、株式の8.333%に関する権利が失効し、また本募集の完了においても失効します。窪田氏が、「理由」(窪田氏の雇用契約において定義されます。)なく解雇された場合、当社が株式の50%を買戻す権利は失効します。さらに、当社が株式を買戻す権利は、窪田氏が解雇され、当社がかかる株式を、窪田氏の解雇後60日以内に買戻さない場合、または窪田氏が理由なく解雇されたもしくは「正当な理由」(窪田氏の雇用契約において定義されます。)により解雇された場合、「支配権の変更」(窪田氏の雇用契約において定義されます。)の18か月以内に買戻さない場合、失効します。普通株式に対する支払いとして、窪田氏は当社に対し、適用ある株式により担保される元本総額56,654米ドルの償還請求権付約束手形を譲渡しました。窪田氏の雇用契約の条件に基づき、2012年12月に、当社はかかる手形のすべての返済を行いました。これらの返済に関連し、当社は、かかる手形の支払いに関し窪田氏により支払われる追加的税金を相殺するために、同氏に対して総額32,495米ドルを支払いました。

### 非株式インセンティブ・プラン報酬

当社の指名執行役員は、2012年において、Acucelaインセンティブ・プログラムに基づき現金賞与を付与されました。Acucelaインセンティブ・プログラムに基づき、当社の指名執行役員は、年間会社業績目標の達成に基づく賞与を受領する資格を有します(ローランス氏およびデ・ヤング氏に関しては、各役員の個人の年間業績目標に基づきます。)。Acucelaインセンティブ・プログラムにおける目標賞与機会は、経営陣からの提案に基づき、当社の報酬委員会により設定されました。2012年において、指名執行役員の目標賞与機会は(基本給に対する割合)は、窪田氏が60%、ローランス氏が30%、デ・ヤング氏が30%であり、窪田氏の実際の賞与支払いは、達成された会社目標および目的の割合(以下「会社ファクター」といいます。)を、窪田氏の目標賞与機会に乗じることにより決定されました。ローランス氏およびデ・ヤング氏については、実際の賞与支払いは、会社ファクターに会社目標および目的の荷重係数を乗じた積と、達成された各指名執行役員の目標および目的の割合(以下「個人ファクター」といいます。)に個人目標および目的の荷重係数を乗じた積の合計により決定されます。かかる数値の合計は、その後目標賞与機会に乗じられます。

Acucelaインセンティブ・プログラムに基づく指名執行役員の個人目標および目的に対する会社目標および目的の相対的な重みづけは以下のとおりであります。

指名執行役員	会社目標および目的	個人目標および目的
窪田良	100%	該当なし
デヴィッド・L・ローランス	65%	35%
ヘン・デ・ヤング	65%	35%

2012年における会社ファクターは、110%を上限とし、0%から110%までの幅がありました(それぞれが10から30までのパーセンテージ・ポイントの範囲を有し特定の寄与をする7つの会社目標および目的の達成に基づき、会社ファクターにおける最高値を110パーセンテージ・ポイントとします。)。これらの会社目標および目的は、エミクススタト、OPA-6566およびレバミピドの臨床試験マイルストーンの達成、内部報告マイルストーン、事業開発マイルストーンおよび戦略提携マイルストーンに基づきます。

2012年における個人ファクターは、年次業績レビュー・プロセスを通して決定される、適用ある指名執行役員の個人目標および目的の達成に基づき、0%から110%までの幅がありました。これらの決定をする上で、当社は、主観に基づき、当社のCEOである窪田氏の提案を含む複数の要因を考慮します。さらに、窪田氏は年次賞与レビュー・プロセスに反映される達成パーセンテージを、110%を上限として引き上げまたは引き下げることができる決定権を有し、従って個人ファクターに基づく達成パーセンテージを決定します。個人ファクターを決定するために用いられる目標および目的は、各指名執行役員に対して個別に設定され、当社の臨床試験、関連ネットワークの拡大、提携関係の管理、株式公開の進行、財務報告の改善および計画機能に関する成果の各カテゴリーに分類されます。2012年において、当社の報酬委員会は、各会社目標および目的の完全な達成に基づき、会社ファクターは110%であると決定し、ローランス氏およびデ・ヤング氏の個人ファクターは、2012年における各氏の高い業績に基づき、それぞれ102%であると決定しました。2012年において、Acucelaインセンティブ・プログラムに基づき当社の指名執行役員により獲得された年間支払いは、以下のとおりであります。

指名執行役員	実際の報酬金額
窪田良	320,100米ドル
デヴィッド・L・ローランス	93,200米ドル
ヘン・デ・ヤング	80,249米ドル

以下の表は、2012年12月31日現在の当社の指名執行役員により保有されるエクイティ・アワードに関する情報であります。

#### 2012年12月31日現在の発行済エクイティ・アワード

氏名	オプション・アワード				ストック・アワード	
	未行使オプション に潜在する株式数		オプション 行使価格 <sup>(1)</sup> (米ドル)	オプション 行使期限	未確定 株式数 <sup>(2)</sup>	未確定株式の 市場価値 <sup>(3)</sup>
	行使可	行使不可				
窪田良	10,000 <sup>(4)</sup>	-	1.45	2017年5月4日	24,660	
デヴィッド・L・ロー ランス	13,500 <sup>(5)</sup>	54,000	4.52	2021年5月17日	-	-
	-	67,900 <sup>(5)</sup>	9.30	2022年5月24日	-	-
ヘン・デ・ヤング	40,000 <sup>(6)</sup>	-	3.23	2019年5月28日	-	-
	5,600 <sup>(7)</sup>	22,400	4.52	2021年7月21日	-	-

(1) 当社の取締役会が決定した、オプションまたはストック・アワードの付与日における当社の普通株式の公正市場価値を示します。当社の普通株式の評価方法については、「第3 事業の状況 - 7. 財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析 - (1)重要な会計方針および見積り」をご参照ください。

(2) すべてのストック・アワードは付与日から開始して3か月毎に普通株式の8.333%の権利が確定し、付与日から3年目の応当日において100%の権利が確定します。窪田氏のストック・アワードの対象である未確定の株式を買戻す当社の権利は、本募集の完了において失効します。

- (3) 当社の普通株式の市場価格は、推定される当社の普通株式の1株当たりの初回公募価格(16.50米ドル)に基づきます。
- (4) 2007年4月27日付でオプションに潜在する普通株式の25%の権利が確定し、残りの株式はその後3年間にわたり、毎月同等に権利が確定しました。
- (5) 2012年4月23日付でオプションに潜在する普通株式の20%の権利が確定し、残りの株式はその後4年間にわたり、毎月同等に権利が確定していきます。
- (6) 2009年9月1日付でオプションに潜在する普通株式の25%の権利が確定し、残りの株式はその後3年間にわたり、毎月同等に権利が確定していきます。
- (7) 2012年7月1日付でオプションに潜在する普通株式の20%の権利が確定し、残りの株式はその後4年間にわたり、毎月同等に権利が確定していきます。

当社と窪田氏との間における雇用契約に基づき、窪田氏は、2013年9月30日に終了した9か月間において、31,452株の当社普通株式を、総額456,000米ドルで購入しました。窪田氏の株式保有に関する取決めについては、「役員雇用に関する取決め - 窪田良」をご参照ください。これらのアワードは、2012年における窪田氏の株式購入と同様の条件に服します。普通株式に対する支払いとして、窪田氏は、適用ある株式により担保される元本総額456,000米ドルの償還請求権付約束手形を当社に提供しました。窪田氏の雇用契約の条件に基づき、2013年1月および5月において、当社はかかる手形すべての返済を行いました。かかる返済に関連し、当社は窪田氏に対して、かかる手形の返済に関連して同氏が支払う必要のある追加的な税金を相殺するために、総額330,000米ドルを支払いました。

## 役員雇用に関する取決め

### 窪田良

当社と当社のCEOである窪田良氏との間の修正済雇用契約は、現在、米国都市部消費者物価指数の上昇を反映するための年間調整の対象である485,000米ドルの年間基本給ならびに窪田氏および当社の取締役会との間で相互に合意した目標の達成において年間基本給の60%に相当する年間賞与を獲得する権利を定めています。

かかる契約はまた、本募集の完了までに(普通株式に転換された際の)当社の議決権付発行済株式における窪田氏の持分が51%を下回る場合に、窪田氏が当社の普通株式または制限付普通株式を購入することのできるオプションを受領する権利を定めています。窪田氏に対して発行された、普通株式または制限付普通株式を購入することのできるオプションは未確定であり、また、上記「2012年エクイティ・アワード」において詳細に記載されるとおり、付与日から36か月間にわたって失効する、当社がかかる株式を買戻す権利の対象となっています。

窪田氏に対する制限付普通株式の発行に関連して、窪田氏は、かかる制限付株式の付与日における公正市場価額を支払わなければならないなりません。窪田氏は、窪田氏に対して発行された制限付普通株式により担保される償還請求権付約束手形を当社に提供することにより、かかる購入価額を支払うことができます。本募集に関する株式の登録のための登録届出書の提出日まで、当社は窪田氏に対して、発行済約束手形に基づく残額および発生した利息ならびに現金賞与の支払いに関し窪田氏が支払う必要のある追加的な税金の総額に相当する金額の現金賞与を支払う義務を有します。その際、賞与が約束手形に基づく残額に適用され、手形が消却されます。以下「執行役員に対する貸付金」をご参照ください。

窪田氏の雇用は、理由の有無に関わらず、いかなる時でも終了される可能性があります。同氏と当社との間の雇用契約は、窪田氏の雇用が「理由」なく、または「正当な理由」（いずれも窪田氏の雇用契約において定義されます。）により終了した場合、権利放棄書の締結を条件として、窪田氏が、年間基本給の300%に相当する金額の一時払い、年間基本給の180%に相当する賞与としての一時払いに雇用の終了が発生した会計年度の目標賞与の日割計算による金額を付した金額、その時点で適用されるCOBRAプログラムに基づき窪田氏およびその家族に提供される医療サービスの健康保険料の最高18か月分（もしあれば）ならびにいかなる発行済オプションの18か月分の追加的受領権を受領する権利を有することを定めています。「支配権の変更」（窪田氏の雇用契約において定義されます。）の場合には、窪田氏の未確定の発行済オプションの半分およびすべての制限付株式の権利が直ちに確定し、かかる支配権の変更に關連してまたはその後18か月以内に、窪田氏の雇用が理由なくまたは正当な理由により終了した場合、同氏の未確定の発行済オプションのすべておよび制限付株式のすべては、ただちに権利が確定します。さらに、窪田氏の雇用が、支配権の変更後6か月経過した後の30日間以内に、いかなる理由により窪田氏により終了された場合、かかる雇用の終了は正当な理由によるものとみなされ、同氏は、上記の雇用終了後の給付金を受領する権利を有します。当社はまた、契約に基づき同氏に対して行う支払いに関して課される消費税を窪田氏に対して支払う義務を有します。窪田氏は競業避止義務契約の対象であり、雇用が終了した後12か月間にわたり当社と競合することができません。

### デヴィッド・L・ローランス

ローランス氏の現在の基本給は、308,544米ドルであり、同氏は、Acucelaインセンティブ・プログラムに参加する資格を有しています。

ローランス氏の雇用は、理由の有無に関わらず、いかなる時でも終了される可能性があります。2011年3月のオファー・レターにおいて、ローランス氏の雇用が、ワシントン州への移転（すなわち2014年12月13日）後3年以内に「理由」（かかるオファー・レターにおいて定義されます。）なく終了された場合、権利放棄書の締結を条件として、同氏は、その時点で年間基本給の6か月分およびその時点で適用されるCOBRAプログラムに基づきローランス氏およびその家族に提供される医療サービスの健康保険料の6か月分（もしあれば）に相当する金額の退職金の支払いを受領する権利を有すると定めています。ローランス氏の雇用の終了が直接的に当社の事業の悪化による場合は、同氏の退職金（もしあれば）は、当社の取締役会により決定されます。ローランス氏は競業避止義務契約の対象であり、雇用が終了した後12か月間にわたり当社と競合することができません。

### ヘン・デ・ヤング

デ・ヤング氏の現在の年間基本給は259,512米ドルであり、同氏はAcucelaインセンティブ・プログラムに参加する資格を有します。

デ・ヤング氏の雇用は、理由の有無に関わらず、いかなる時でも終了される可能性があります。デ・ヤング氏は競業避止義務契約の対象であり、雇用が終了した後12か月間にわたり当社と競合することができません。

## 従業員給付金制度

### 2012年エクイティ・インセンティブ・プラン

当社の2012年エクイティ・インセンティブ・プラン（以下「2012年プラン」といいます。）は、当社の2002年プランの後継プランであります。当社の取締役会は、2012年9月に2012年プランを採用し、当社の株主は、2013年5月にかかるプランを承認しました。2012年プランは、1986年米国内国歳入法（改正済）（以下「法」といいます。）第422条に基づき受領者に対して税法上の優遇措置を与えるインセンティブ・ストック・オプションの付与ならびに税制非適格オプションおよび制限付株式、株式評価益権および制限付株式ユニットの発行を定めています。当社は、インセンティブ・ストック・オプションを、当社の従業員にのみ付与することができます。当社は、税制非適格オプションを、当社の従業員、取締役、コンサルタント、独立請負人およびアドバイザーに対して付与することができます。各ストック・オプションの行使価格は、付与日における当社の普通株式の公正市場価格以上でなければなりません。10%の株主に付与されるインセンティブ・ストック・オプションの行使価格は、付与日における当社の普通株式の公正市場価格の110%以上でなければなりません。2012年プランに基づき付与されたオプションの許容最大期限は10年間であります。一般的に、2012年プランに基づき付与されたオプションは、以下に記される2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたアワードと類似した条件を有します。

2013年9月30日現在、当社は、2012年プランに基づき発行可能な1,436,920株の普通株式を留保していました。2013年9月30日現在、かかる株式を購入するために行使されたオプションはなく、かかる株式のうち131,750株を購入するためのオプションが発行済みであり、かかるプランに基づき将来的に付与される株式の残高は1,236,670株でありました。2013年9月30日現在に発行済みのオプションの加重平均行使価格は15.46米ドルでありました。当社の2014年エクイティ・インセンティブ・プランは、本募集に関する株式の登録のための登録届出書の提出日付で有効となる予定であります。2014年エクイティ・インセンティブ・プランが有効となった後、当社は2012年プランに基づく追加的なアワードを付与することはなく、2012年プランは終了されません。しかしながら、2012年プランに基づき付与されたいかなる発行済アワードも、それらが行使されるまでまたはそれらの条件により終了もしくは失効するまで、2012年プランおよび契約の条件に基づき残存します。

### 2002年ストック・オプションおよび制限付株式プラン

当社の取締役会は、2002年6月に、2002年ストック・オプションおよび制限付株式プラン（以下「2002年プラン」といいます。）を採用し、当社の株主は、2002年8月にかかるプランを承認しました。2013年9月30日現在、当社は2002年プランに基づき発行可能な780,963株の普通株式を留保していました。2013年9月30日現在、かかる株式のうち270,299株を購入するオプションが行使され、かかる株式のうち592,781株を購入するためのオプションが発行済みで残存しており、かかるプランに基づき将来的に発行可能な株式はありませんでした。2013年9月30日現在に発行済みのオプションの加重平均行使価格は5.42米ドルでありました。2002年プランは終了しており、かかるプランに基づき追加的に付与されるアワードはありません。しかしながら、2002年プランに基づき付与された発行済オプションは、それらが行使されるまでまたはそれらの条件により終了もしくは失効するまで、2002年プランおよびストック・オプション契約の条件に基づき残存します。2002年プランに基づき付与されたオプションは、上記の2012年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたアワードと類似した条件を有します。

### 2014年エクイティ・インセンティブ・プラン

当社は、本募集に関する株式の登録のための登録届出書の提出日付で有効となり、従来のストック・プランの後継プランとなる2014年エクイティ・インセンティブ・プランを採用する予定であります。当社は、2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき発行される普通株式300,000株を留保する予定であります。当社は、本募集に関する株式の登録のための登録届出書の提出日付現在、2002年プランおよび2012年プランに基づき未発行の株式または付与済オプションの対象である株式および2002年プランおよび2012年プランに基づき発行され、失権したもしくは当社により買戻されたまたは完全に行使されずに失効するもしくは何らかの理由により行使不可能となるオプションの行使に基づき発行される株式は、2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与または発行可能であると見込んでいます。さらに当社は、12月31日の直前日現在における当社の普通株式の残高の4%に相当する株式が2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づく発行のために留保される株式数に1月1日に自動的に加えられるものと予測しています。しかしながら、当社の取締役会または報酬委員会は、特定の年度における株式数の増加を縮小する可能性があります。さらに、以下の株式は、2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき再び付与または発行が可能となります。

- ・ 2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたオプションまたは株式評価益権の対象となる株式で、オプションの行使以外のいかなる理由により、オプションまたは株式評価益権の対象ではなくなる株式
- ・ 2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたアワードの対象である株式で、その後失権したもまたは当初発行価格において当社により買戻された株式
- ・ 株式が発行されずに終了した、2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたアワードの対象である株式

2014年エクイティ・インセンティブ・プランは、当社の取締役会がかかるプランを承認してから10年後に終了する（当社の取締役会により早期終了された場合を除きます。）と見込まれます。当社の2014年プランは、ストック・オプション、制限付ストック・アワード、株式評価益権、制限付株式ユニット、業績連動アワードおよび株式賞与の付与の権限を与えるものであります。2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき、雇用が開始される暦年において4,000,000株以下の株式を受領する権利を有する当社の新従業員を除き、同プランに基づき、いかなる暦年において2,000,000株超の株式を受領する者はおりません。



当社の2014年エクイティ・プランは、メンバー全員が適用ある連邦証券法に基づく非従業員取締役であり、適用ある連邦税法に定義される社外取締役である当社の報酬委員会または当社の報酬委員会の代わりに行為する当社の取締役会により管理されています。報酬委員会は、2014年エクイティ・インセンティブ・プランを解釈し、アワードを付与し、かかるプランの管理において必要かつ妥当なその他のすべての決定を行う権限を有します。

2014年エクイティ・インセンティブ・プランは、法第422条に基づく当社従業員のみに対するインセンティブ・ストック・オプションの付与を定める予定であります。2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき、インセンティブ・ストック・オプションとして20,000,000株超の株式が発行されることはありません。インセンティブ・ストック・オプション以外のすべてのアワードは、資本金調達取引における有価証券の募集および売却に関連しない役務を提供する当社の従業員、取締役、コンサルタント、独立請負人およびアドバイザーに対して付与される可能性があります。ストック・オプションの行使価格は、付与日における普通株式の公正市場価格と同等以上でなくてはなりません。10%の株主である従業員に付与されたインセンティブ・ストック・オプションの行使価格は、かかる価格の110%以上でなければなりません。

当社の報酬委員会は、権利が確定した際のみオプションが行使可能であるか、または直ちに確定するが行使の際に発行される株式について、株式の権利が確定した際に失効する当社の買戻権付きとして定めることができます。一般的に、オプションは4年間にわたり権利が確定します。2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたオプションの最長期間は10年間ありますが、10%の株主である従業員に付与されたインセンティブ・ストック・オプションについては、最高5年間の期限を有します。

制限付ストック・アワードは、制限付普通株式を売却する当社によるオファーであります。制限付ストック・アワードの価格(もしあれば)は、報酬委員会により決定されます。付与時において報酬委員会により別段の決定がされない限り、権利の確定は、参加者が当社対し役務を提供しなくなった日に停止し、未確定の株式は失効します。

株式評価益権は、保有者に対し、行使日における当社普通株式の公正市場価格と現金または株式数の最高値を上限とする提示された行使価格の差異を、現金または当社普通株式により支払うものであります。株式評価益権は、業績条件の期間および成果に基づき権利が確定する可能性があります。

制限付株式ユニットは、将来の特定の日において普通株式を受領する権利(ただし雇用の終了または一定の業績条件の達成の不成功により権利が失効する可能性があります。)をいいます。制限付株式ユニットが失効していない場合、制限付株式ユニット契約に特定される日において、当社は、制限付株式ユニットの保有者に対し、(追加的な制限の対象である可能性があります)当社普通株式または現金もしくはその両方を提供します。

業績連動株式は、当社の普通株式の多くを占める業績連動アワードであり、事前に設定された業績条件の達成において、現金または潜在する株式の発行により決済される可能性があるものであります。これらのアワードは、雇用の終了または業績条件の不達成により確定前に失効する可能性があります。

株式賞与は、役務および/または業績に対する追加的な報酬として付与される可能性があり、現金との引換えのために発行されることはありません。

2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたアワードは、遺言または相続および分配に関する法律に基づくもしくは当社の取締役会により決定された方法以外で譲渡されることはありません。当社の報酬委員会により別段の制限がない限り、税制非適格オプションであるアワードは、選択権の保有者の生存期間においてのみ、選択権の保有者、その後見人または法定代理人もしくは許可された名義変更によりかかる選択権を取得した選択権の保有者の家族によってのみ、行使可能であります。インセンティブ・ストック・オプションであるアワードは、選択権の保有者の生存期間においてのみ、選択権の保有者、その後見人または法定代理人によってのみ、行使可能であります。2014年エクイティ・インセンティブ・プランに基づき付与されたオプションは、通常、選択権の保有者の当社に対する役務提供が終了してから3か月以内または死亡もしくは障害による場合は12か月以内において行使されなければなりません。オプションは一般的に、理由ある雇用の終了において直ちに終了されます。

当社が解散もしくは清算されまたは支配権の変更を伴う取引を行う場合、権利確定の条項を含む発行済のアワードは、後継会社により引受けられるまたは代替される可能性があります。後継会社に引受けまたは代替されない発行済のアワードは、解散もしくは清算または支配権の変更を伴う取引の完了において、失効します。適用あるオプション契約に別段の定めがない限り、現在の取締役により保有されるオプションは、それらが後継会社に引受けまたは代替されない場合、すべての権利が確定します。

## 2013年インセンティブ・プログラム

2013年の当社のインセンティブ・プログラムは、かかるプランに基づき2013年における新たな会社目標および目的ならびに個人目標および目的が設定されたことを除き、上記「役員報酬 - 報酬の概要 - 非株式インセンティブ・プラン報酬」に記載されるAcucelaインセンティブ・プログラムと同様であります。

## 401(k)プラン

当社は、法第401(k)条に基づく税法上の優遇措置を与えることを目的とした退職金制度を採用しています。従業員は通常、かかる制度に参加する資格を有します。参加者は、法に基づき制定法で定められた年間上限拠出額を上限として、収入から制度に対する税引前または税引後の拠出を行うことができます。50歳以上の参加者は、制定法で定められる上限に基づき、加算拠出として追加額を拠出することもできます。参加者による税引前拠出および当社が制度に対して行う企業拠出ならびにかかる拠出から得られた収益は通常、制度を脱退するまで、参加者に対する課税の対象ではありません。参加者による拠出は、法律で定められるとおり信託に保管されます。かかる制度に基づく給付金に最低金額は定められていません。税引前または税引後の繰延金のうち従業員の持分は、拠出が行われる際に完全に権利が確定します。

## 取締役および役員の法的責任の制限および補償

当社の定款には、ワシントン州会社法により認められる最大の範囲において、金銭的損害における当社の取締役の法的責任を制限する条項が含まれています。結果として、当社の取締役は、以下の場合を除き、当社の取締役として当社または当社の株主に対して個人的に金銭的損害の責任を負うことはありません。

- ・ 取締役による意図的な違法行為
- ・ 取締役による故意の法律違反
- ・ ワシントン改正州法第23B.08.310条に定められる違法の分配
- ・ 取締役が個人的に、法的に受領の権利を有しない現金、資産またはサービスによる利得を受領する取引

当社の付属定款は、当社の取締役もしくは役員であるまたは当社の取締役もしくは役員であったまたは当社の要請によりその他企業、パートナーシップ、合併事業、信託もしくはその他の事業体の取締役もしくは役員を務めているもしくは務めていたことを理由とするいかなる裁判、訴訟または法的手続きの当事者であるもしくは当事者であったまたは当事者になるという恐れがある者を当社が補償し、何らの損害も与えないことを定めています。当社の付属定款は、当社の従業員もしくは代理人であるまたは当社の従業員もしくは代理人であったまたは当社の要請によりその他企業、パートナーシップ、合併事業、信託もしくはその他の事業体の従業員もしくは代理人を務めているもしくは務めていたことを理由とするいかなる裁判、訴訟または法的手続きの当事者であるもしくは当事者であったまたは当事者になるというおそれがある者を当社が補償することを定めています。当社の付属定款はまた、当社が、いかなる裁判または法的手続きの最終的処遇の前に、取締役もしくは役員によりまたは取締役もしくは役員を代理して発生した費用を前払いすることを定めています（ただし限られた例外を除きます。）。

当社は、受託者義務違反または取締役もしくは役員としてのその他の不正行為（公募証券に関連する申立を含みます。）を理由とした賠償請求により発生する損害に対し、当社の取締役および役員に対して補償が提供され、また当社の補償義務に基づきもしくはさもなければ法的に当社がそれらの役員および取締役に対して行う可能性のある支払いに関して、当社に対して補償を提供する保険に加入しています（保険契約の制限を条件とします。）。

本募集の完了の前に、当社は、当社の各取締役および執行役員との間に、ワシントン州会社法に含まれる特定の補償条項よりも広範な損失補償契約を締結する意向であります。これらの損失補償契約により、当社は、とりわけ、当社の取締役および執行役員の地位または役務を理由として生じた法的責任に対して補償を提供しなければならない可能性があります。これらの損失補償契約により、当社はまた、かかる裁判、訴訟もしくは法的手続きの調査もしくは弁護のために取締役もしくは執行役員により発生したすべての費用を補償しなければならない可能性があります。当社は、当社の取締役または執行役員を務める適格要件を満たした人員を誘致、確保するために、これらの契約が必要であると確信しています。

現在、当社は、当社の取締役、役員、従業員もしくはその他の代理人のひとりであるまたは当社の取締役、役員、従業員もしくはその他の代理人のひとりであった者または当社の要請によりその他企業、パートナーシップ、合併事業、信託もしくはその他の事業体の取締役、役員、従業員もしくは代理人を務めているもしくは務めていた者が関係する、補償が必要とされるいかなる係争中の訴訟または法的手続きも認識しておらず、また、補償が必要な申立てに発展する可能性のあるいかなる訴訟も認識しておりません。

引受契約は、米国証券法その他に基づき発生する一定の法的責任について、当社の引受人ならびに当社の役員、取締役および従業員に対して一定の補償を提供することを定めています。

米国証券法に基づき発生する法的責任について、上述の条項に基づき取締役、役員または当社を支配する者に対して補償が認められる範囲内で、当社は、かかる補償が米国証券法に述べられる公共政策に反しており、従って法的強制力がない旨、SECの意見を述べられています。

### コンサルティング関係

当社は、当社の取締役のひとりであるピーター・クレセル氏との間における、2014年1月2日まで役務を提供する旨を定めたコンサルティング契約の当事者となっています。クレセル氏は、2010年、2011年および2012年において、コンサルティング・サービスおよび本契約に基づく費用の払戻しとしてそれぞれ218,000米ドル、217,000米ドルおよび216,000米ドルを受領しました。クレセル氏は当社のコンサルタントとして、FDAへのNDA登録申請ならびに戦略の立案およびFDAとのコミュニケーション対応に関するコンサルティング業務を提供しております。また、当社と大塚製薬との共同開発委員会においても、戦略的アドバイスおよび事業支援を必要な際に提供しています。このようにクレセル氏は、経営を監督する社外取締役としての立場とは明確に役割が異なる業務を遂行していることから、当社は同氏との間でコンサルティング契約を締結しました。同契約に基づき、2013年5月31日まで、月々18,000米ドルの料金によるコンサルティング・サービスに対する報酬を受領しました。なお、2013年6月1日以降は、予測される拘束時間および責任範囲の増加により、月々30,000米ドルの料金によるコンサルティング・サービスに対する報酬を受領しています。

### 執行役員に対する貸付金

窪田氏との雇用契約に基づき、窪田氏は、2010年1月1日から2012年12月31日まで、合計113,782株の当社普通株式を、総額626,000米ドルで購入しました。普通株式の支払いとして、窪田氏は、適用ある株式により担保される元本総額626,000米ドルの償還請求権付約束手形を当社に譲渡しました。窪田氏の雇用契約の条件に基づき、当社は、2010年、2011年および2012年において、かかる手形についてそれぞれ551,000米ドル、18,000米ドルおよび57,000米ドルの返済を行いました。これらの返済に関連し、当社は、かかる手形の返済に関し窪田氏により支払われる追加的税金を相殺するために、同氏に対して総額359,000米ドルを支払いました。窪田氏の雇用契約に関する詳細は、上記「役員報酬 - 報酬の概要 - 2012年エクイティ・アワード」および「役員報酬 - 役員雇用契約 - 窪田良」をご参照ください。

## (2) 【監査報酬の内容等】

## 【外国監査公認会計士等に対する報酬の内容】

区分	前会計年度 (2011年)		当会計年度 (2012年)	
	監査業務に関して支払われた報酬額	非監査業務に関して支払われた報酬額	監査業務に関して支払われた報酬額	非監査業務に関して支払われた報酬額
提出会社	133,724米ドル (13,698,686円)	18,320米ドル (1,876,700円)	347,955米ドル (35,644,510円)	26,269米ドル (2,690,996円)
連結子会社	該当なし	該当なし	該当なし	該当なし
合計	133,724米ドル (13,698,686円)	18,320米ドル (1,876,700円)	347,955米ドル (35,644,510円)	26,269米ドル (2,690,996円)

## 【その他重要な報酬の内容】

監査業務に関して上記以外に支払われた報酬はありません。

## 【外国監査公認会計士等の提出会社に対する非監査業務の内容】

監査人は、上記「非監査業務に関して支払われた報酬額」に含まれる、連邦所得税の確定申告に関する税務関連サービスを提供しました。

サーベンス・オクスリー法監査業務に関する報酬は、上記「監査業務に関して支払われた報酬額」に含まれます。

## 【監査報酬の決定方針】

監査報酬は、取締役会の監査委員会により承認されます。

## 第6【経理の状況】

本書記載のAcucela Inc. (以下「当社」といいます。)の2011年および2012年12月31日に終了した年度の財務書類は、米国証券取引委員会 (SEC) に提出されたForm S-1に記載されたものであり、米国において一般に公正妥当と認められた会計原則に準拠して作成されています。かかる財務書類は、米国においてForm S-1が提出され開示された後、「財務諸表等の用語、様式及び作成方法に関する規則」(昭和38年大蔵省令第59号、以下「財務諸表等規則」といいます。)第129条第1項の規定の適用を受けています。

当該財務書類は、独立監査人であるアーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーの監査を受けています。

なお、当社の財務書類は金融商品取引法施行令(昭和40年政令第321号)第35条および「財務諸表等の監査証明に関する内閣府令」(昭和32年大蔵省令第12号)第1条の3の規定により、金融商品取引法第193条の2の規定に基づく監査を受けていません。

2012年および2013年9月30日に終了した9か月間ならびに2013年9月30日現在の財務書類は、未監査であります。未監査の9か月間の財務情報は、年次財務情報と同様の基準により作成され、経営者の意見によれば、2013年9月30日現在の当社の財務状態ならびに2012年および2013年9月30日に終了した9か月間における経営成績およびキャッシュ・フローを公正に表示するために必要な通常の反復的調整を含むすべての調整を反映しています。9か月間の成績は、必ずしも年次の経営成績を示唆するものではありません。かかる四半期財務書類は、「四半期財務諸表等の用語、様式及び作成方法に関する規則」(平成19年内閣府令第63号)第85条第1項の規定の適用を受けています。

本書記載の財務書類のうち、英文(原文)は当社がSECに提出したものと同一であり、日本語はこれら原文の財務書類を翻訳したものであります。

本書記載の当社の財務書類(原文)は、米ドルで表示されています。「円」で表示されている金額は、財務諸表等規則第132条の規定に基づき、2013年12月2日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客電信直物売買相場の仲値に基づき1米ドル=102.44円で換算された金額であります。この換算は、もっぱら読者の便宜のためのものであり、その金額が上記の相場で実際に日本円に交換されたり、交換できたであろうというように解するべきものではありません。

日本において一般に公正妥当と認められている企業会計基準、会計処理および表示方法との主な相違点に関する事項は、「4. 米国と日本における会計原則及び会計慣行の主要な相違」において説明されています。

円換算額および「4. 米国と日本における会計原則及び会計慣行の主要な相違」は、当社の原文の財務書類には含まれておらず、当社の監査人であるアーンスト・アンド・ヤング・エルエルピーの監査の対象にもなっていません。

## 1【財務書類】

## ACUCELA INC.

## 貸借対照表

(単位：千米ドル、千円)

	12月31日現在		12月31日現在	
	2011年		2012年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>資産</b>				
流動資産：				
現金および現金同等物	9,760	999,814	16,639	1,704,499
投資	9,357	958,531	6,927	709,601
制限付投資	-	-	5,009	513,121
関連当事者との提携からの未収金	12,251	1,254,992	8,700	891,228
繰延税金資産	507	51,937	770	78,878
前払費用およびその他の流動資産	484	49,580	1,521	155,811
流動資産合計	32,359	3,314,855	39,566	4,053,141
有形固定資産（純額）	1,360	139,318	1,143	117,088
制限付長期投資	-	-	750	76,830
長期繰延税金資産	6,591	675,182	3,895	399,003
繰延株式発行費用	586	60,029	1,199	122,825
その他の資産	599	61,361	471	48,249
資産合計	41,495	4,250,747	47,024	4,817,138
<b>負債および株主資本</b>				
流動負債：				
関連当事者に対する一年以内満期の条件付 転換債務	10,765	1,102,766	6,500	665,860
買掛金	2,684	274,948	735	75,293
未払債務	1,798	184,187	3,109	318,485
未払報酬	1,635	167,489	2,413	247,187
関連当事者との提携からの繰延収益	-	-	570	58,390
繰延賃借料およびリース・インセンティブ	-	-	249	25,507
流動負債合計	16,882	1,729,392	13,576	1,390,725
コミットメント：				
長期繰延賃借料およびリース・インセン ティブ、その他	538	55,112	341	34,932
関連当事者との提携からの長期繰延収益	2,000	204,880	2,000	204,880
関連当事者に対する長期条件付転換債務	1,235	126,513	5,500	563,420
長期負債合計	3,773	386,506	7,841	803,232
株主資本：				
転換優先株式（無額面）授権株式数52,453 千株：				
シリーズA株式（無額面）授権および発行済 株式数 2,734千株（償還価額：2,051千米ドル）	2,051	210,104	2,051	210,104
シリーズB株式（無額面）授権および発行済 株式数 17,900千株（償還価額：13,425千米ドル）	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364
シリーズC株式（無額面）授権株式数31,818 千株 発行済株式数11,807千株（償還価額： 12,988千米ドル）	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261
普通株式（無額面） 授権株式数 60,000千株 発行済株式数 2011年12月31日現在 11,899千株 2012年12月31日現在 11,910千株	3,133	320,944	3,192	326,988
資本剰余金	1,441	147,616	1,965	201,294
その他の包括損失累計額	(6)	(614)	-	-
累積欠損	(11,937)	(1,222,826)	(7,759)	(794,831)
株主資本合計	20,840	2,134,849	25,607	2,623,181
負債および株主資本合計	41,495	4,250,747	47,024	4,817,138

添付の財務書類の注記を参照のこと。

## ACUCELA INC.

## 損益計算書

(単位：株式数および1株当たり金額を除き、千米ドル、千円)

	12月31日終了年度		12月31日終了年度	
	2011年		2012年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
関連当事者との提携からの収益	34,226	3,506,111	46,424	4,755,674
費用：				
研究開発費	24,183	2,477,306	31,604	3,237,513
一般管理費	6,174	632,464	7,787	797,700
費用合計	30,357	3,109,771	39,391	4,035,214
営業利益	3,869	396,340	7,033	720,460
その他の収益 (費用) (純額)：				
受取利息	21	2,151	27	2,765
支払利息	(143)	(14,648)	(138)	(14,136)
その他の収益 (費用) (純額)	39	3,995	(97)	(9,936)
その他の費用合計 (純額)	(83)	(8,502)	(208)	(21,307)
税引前当期純利益	3,786	387,837	6,825	699,153
法人税ベネフィット (費用) (純額)	2,480	254,051	(2,647)	(271,158)
当期純利益	6,266	641,889	4,178	427,994
参加証券に帰属する当期純利益	4,584	469,584	3,056	313,056
普通株主に帰属する当期純利益	1,682	172,304	1,122	114,937
普通株主に帰属する1株当たり当期純利益 (米ドル (円))				
基本	0.14	14	0.09	9
希薄化後	0.14	14	0.09	9
普通株主に帰属する1株当たり当期純利益の計算 に使用した加重平均株式数 (千株)				
基本	11,897		11,901	
希薄化後	12,045		12,158	
普通株主に帰属する仮定1株当たり当期純利益 (米ドル (円))				
基本 (未監査)			0.16	16
希薄化後 (未監査)			0.16	16
普通株主に帰属する仮定1株当たり当期純利益の 計算に使用した加重平均株式数 (千株)				
基本 (未監査)			26,351	
希薄化後 (未監査)			26,608	

添付の財務書類の注記を参照のこと。

ACUCELA INC.  
包括利益計算書

(単位: 千米ドル、千円)

	12月31日終了年度		12月31日終了年度	
	2011年		2012年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
当期純利益	6,266	641,889	4,178	427,994
その他の包括利益： 有価証券未実現純利益	28	2,868	6	614
当期包括利益	6,294	644,757	4,184	428,608

添付の財務書類の注記を参照のこと。

[次へ](#)



## ACUCELA INC.

## 株主資本等変動計算書

(単位:千株、千米ドル(下段は千円))

	転換優先株式								資本剰余金	その他の 包括 利益(損 失) 累計額	累積欠損	合計
	シリーズA		シリーズB		シリーズC		普通株式					
	株式数	金額	株式数	金額	株式数	金額	株式数	金額				
2010年12月31日現在残高	2,734	2,051	17,900	13,387	11,807	12,771	11,894	3,110	1,019	(34)	(18,203)	14,101
株式報酬	-	(210,104)	-	(1,371,364)	-	(1,308,261)	-	(318,588)	(104,386)	((3,482))	((1,864,715))	(1,444,506)
ストックオプションの行使に関連して発行された普通株式	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(43,229)	(-)	(-)	(43,229)
制限付株式取得契約に関連して発行された普通株式	-	(-)	-	(-)	-	(-)	3	5	(-)	(-)	(-)	(512)
当期純利益	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(1,843)	(-)	(-)	(-)	(1,843)
売却可能市場性有価証券未実現利益	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	(-)	(641,889)	(641,889)
	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	28	(-)	28
	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	(2,868)	(-)	(2,868)
2011年12月31日現在残高	2,734	2,051	17,900	13,387	11,807	12,771	11,899	3,133	1,441	(6)	(11,937)	20,840
株式報酬	-	(210,104)	-	(1,371,364)	-	(1,308,261)	-	(320,944)	(147,616)	((614))	((1,222,826))	(2,134,849)
ストックオプションの行使に関連して発行された普通株式	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(53,678)	(-)	(-)	(53,678)
制限付株式取得契約に関連して発行された普通株式	-	(-)	-	(-)	-	(-)	5	2	(-)	(-)	(-)	(204)
当期純利益	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(5,839)	(-)	(-)	(-)	(5,839)
売却可能市場性有価証券未実現利益	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	(-)	(427,994)	(427,994)
	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	6	(-)	6
	-	(-)	-	(-)	-	(-)	-	(-)	(-)	(614)	(-)	(614)
2012年12月31日現在残高	2,734	2,051	17,900	13,387	11,807	12,771	11,910	3,192	1,965	-	(7,759)	25,607
		(210,104)		(1,371,364)		(1,308,261)		(326,988)	(201,294)	(-)	((794,831))	(2,623,181)

添付の財務書類の注記を参照のこと。

[次へ](#)

## ACUCELA INC.

## キャッシュフロー計算書

(単位：千米ドル、千円)

	12月31日終了年度		12月31日終了年度	
	2011年		2012年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>営業活動によるキャッシュフロー</b>				
当期純利益	6,266	641,889	4,178	427,994
当期純利益から営業活動に使用された現金 (純額) への調整：				
減価償却費	789	80,825	464	47,532
繰延金融費用の償却	12	1,229	10	1,024
有形固定資産除却損	-	-	79	8,092
株式報酬	440	45,073	581	59,517
市場性有価証券のプレミアムまたはディスカウントの償却	193	19,770	107	10,961
繰延税金	(2,632)	(269,622)	2,434	249,338
営業資産および負債の変動：				
関連当事者との提携からの未収金	(5,154)	(527,975)	3,551	363,764
前払費用およびその他の流動資産	510	52,244	(1,037)	(106,230)
買掛金	1,057	108,279	(1,949)	(199,655)
未払債務	(1,518)	(155,503)	1,315	134,708
未払報酬	1,277	130,815	778	79,698
繰延賃借料およびリース・インセンティブ	(313)	(32,063)	48	4,917
関連当事者との提携からの繰延収益	(557)	(57,059)	570	58,390
その他の資産	67	6,863	117	11,985
営業活動によるキャッシュフロー (純額)	437	44,766	11,246	1,152,040
<b>投資活動によるキャッシュフロー</b>				
売却可能市場性有価証券の取得	(18,433)	(1,888,276)	(15,580)	(1,596,015)
売却可能市場性有価証券の満期償還	14,506	1,485,994	12,163	1,245,977
有形固定資産の取得	(166)	(17,005)	(326)	(33,395)
投資活動によるキャッシュフロー (純額)	(4,093)	(419,286)	(3,743)	(383,432)
<b>財務活動によるキャッシュフロー</b>				
普通株式の発行による収入	5	512	2	204
制限付投資による収入	-	-	(13)	(1,331)
繰延株式発行費用の支払い	(586)	(60,029)	(613)	(62,795)
財務活動によるキャッシュフロー (純額)	(581)	(59,517)	(624)	(63,922)
現金および現金同等物の増加 (減少)	(4,237)	(434,038)	6,879	704,684
現金および現金同等物 - 期首残高	13,997	1,433,852	9,760	999,814
現金および現金同等物 - 期末残高	9,760	999,814	16,639	1,704,499
<b>補足情報</b>				
支払利息	63	6,453	420	43,024
支払法人税	132	13,522	151	15,468
担保としての投資資産の制限	-	-	5,750	589,030

添付の財務書類の注記を参照のこと。

[前へ](#)

[次へ](#)

## ACUCELA INC.

## 財務書類に対する注記

## 注記1. 事業の概況および重要な会計方針

## 概要

当社は、世界中で数百万人の人々の視力を脅かしている眼疾患を治療し、またはその進行を遅らせるための新しい治療薬の探索および開発を専門とする、臨床段階のバイオテクノロジー企業である。当社は、自社で開発した視覚サイクルモジュレーター（以下「VCM」という。）の経口製剤の開発に注力しており、加齢黄斑変性（以下「AMD」という。）、糖尿病性網膜症糖尿病性黄斑浮腫をはじめ、スターガート病、網膜色素変性症、未熟児網膜症など、様々な網膜疾患に対する治療薬の開発に取り組んでいる。当社のVCM化合物は、網膜に蓄積する毒性副産物を減少させ、酸化ストレスによる損傷を軽減し、また、光による損傷から網膜を保護することにより、これら網膜疾患の根本原因に対処するものと期待されている。視覚サイクルとは、網膜内において光子（フォトン）が電気信号へと生物学的に変換され続けるために必要な仕組みをいう。当社では、この視覚サイクルの速度を抑制し調節する仕組みを利用することで、眼疾患の治療および進行の抑制に役立てる化合物を開発している。視覚サイクルモジュレーターに関する当社の洞察と、眼科領域の研究開発に関する当社の深い専門知識により、もし承認されれば、視力を保護し複数の眼疾患の進行的影響に悩まされる世界中の患者を救済する製品の開発が可能になる、と当社は確信している。

2010年、当社は、ドライ型AMDの治験中の経口治療薬であるエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」という。）に関し、米国食品医薬品局（以下「FDA」という。）よりファスト・トラックの指定を受けた。

2008年、当社および大塚製薬株式会社（以下「大塚製薬」という。）は、当社のドライ型AMDのための主要な化合物であるエミクススタトについて正式な共同開発契約を締結した。エミクススタトは、米国においてフェーズ2b/3臨床開発を開始している。

2010年、大塚製薬および当社は、大塚製薬が開発した緑内障治療のための化合物であるOPA-6566について正式に共同開発契約を締結した。OPA-6566は、フェーズ1臨床開発を完了した。当社は、現在その先の開発活動を評価している。

2008年、大塚製薬および当社は、大塚製薬のドライアイ治療のための製品候補であるレバミピド点眼薬（以下「レバミピド」という。）の正式な共同開発契約を締結した。レバミピドは、現在、米国においてフェーズ3臨床開発段階である。

## 見積りの使用

米国で一般に認められた会計基準に準拠した財務書類を作成するため、経営陣は財務書類および添付の注記で報告された数値に影響を与える見積りおよび仮定を行わなければならない。実際の結果はこれらの見積りと相違する場合がある。

## 未監査の仮定1株当たり利益

当社の新規株式公開の効力発生日後、これにより1株当たり3.50米ドル以上の価格で25百万米ドル以上が調達されることを前提に、すべての発行済み条件付転換債務および優先株式は、自動的に普通株式に転換される。2012年12月31日に終了した年度の普通株主に帰属する仮定1株当たり純利益（未監査）は、条件付転換債務および優先株式のそれぞれ普通株式3,636,364株および普通株式10,813,867株への自動的な転換が発生したと仮定し、かかる転換が当初発行日に行われたものとして計算されている。

## 現金および現金同等物

現金および現金同等物は、取得日後3か月以内に満期が到来する、短期の流動性の高いすべての投資を含む。現金同等物は、マネー・マーケット・ファンド、地方債および社債で構成される。

## 投資

投資はコマーシャルペーパー、社債、預金証書および政府保証債で構成される。当初満期が3か月超で残存期間が1年未満の投資は、短期投資に分類される。当社は、当社の投資を売却可能なものとみなしている。売却可能有価証券は、各貸借対照表日現在の市場価格に基づく公正価値で計上され、未実現利益および損失はその他の包括損失累計額の項目に純額で表示されている。取得時に発生したプレミアムまたはディスカウントは、利益において償却される。

当社は、取得原価を下回る当社の投資の公正価値の下落が一時的といえないものであるかにつき定期的に評価している。かかる評価は当該未実現損失の深刻さおよび期間、ならびに当該投資を償却原価基準の回復まで保有する可能性がそうでない可能性より高いかに関する複数の質的および量的要因で構成される。実現利益および損失は個別法を用いて計算されている。実現利益および損失ならびに一時的でないとい判断された価値の下落は、損益計算書のその他の利益(費用)の項目下に計上される。

## 制限付投資

当社の投資の一部は、与信限度額を保証する担保として保有されている。かかる投資は、当社の投資方針に従い分類および評価される。

## 未収金

2011年および2012年12月31日現在の当社の未収金は、当社と大塚製薬(関連当事者 - 注記15を参照)との提携により受け取るべき金額から成る。表示期間に関し、貸倒引当金は計上されていない。当社は、大塚製薬との契約上の取決めに基づき、また契約に基づき回収が成功している経緯により、残高がすべて支払われることおよび担保が必要でないことを確信している。

## 有形固定資産

有形固定資産は、減価償却累計額控除後の原価により計上される。当社は、器具備品について5年の見積耐用年数にわたり定額法で償却している。ただし、リース物件改良費は費用で表示され、リース契約期間または資産の見積耐用年数のいずれか短い期間にわたり定額法で償却している。

維持および修理のための支出は、発生時に費用計上する。

使用目的の長期保有資産は、事象または状況の変化により帳簿価額が回収できない可能性が示されたときは、減損評価の対象となる。帳簿価額が、当該資産の割引前将来キャッシュフローに基づき回収不能である場合、減損金額は資産の簿価と公正価値との差額となる。当社は、表示期間について、減損損失を計上していない。

## 収益の認識

当社の事業戦略には、当社の製品候補の開発および商業化のための製薬会社との提携契約の締結が含まれる。契約の条項には、払戻不能のライセンス使用料、研究開発活動の資金提供、開発マイルストーンの達成に基づく支払い、収益マイルストーンの達成に基づく支払い、または製品売上のロイヤリティが含まれる場合がある。当社は以下の4つの基本的な指標に合致したときに収益を認識する。(a) 取決めについての説得力のある証拠が存在する場合、(b) 引渡しが行われたまたはサービスが提供された場合、(c) 手数料が固定または決定可能な場合、および(d) 回収可能性が合理的に保証されている場合。

2011年および2012年12月31日に終了した年度に認識された収益は、大塚製薬 (関連当事者 - 注記15を参照) との提携契約によって発生した金額からなる。

#### 複数要素契約

当社の提携契約は複数要素契約であり、契約に含まれる提供物を識別し、当該提供物が個別の会計単位とみなされるかを決定するために、分析されなければならない。(i) 提供済みの要素が単独で顧客にとって価値を有し、かつ(ii) 当該契約に提供済みの要素に関する一般的な返品の特権が含まれる場合、提供が済んでいない要素の提供または履行が可能でありかつ当社の実質的な管理下にあるとみなされる場合、提供物は個別の会計単位とみなされる。当社の提携契約において返品の特権はない。

契約の対価は、相対的販売価格に基づき個別の会計単位に配分される。当社は、まず第一に公正価値に関する売り手特有の客観的証拠 (VSOE) (通常当社が商品またはサービスを単独で販売する価格) の有無を判断し、各会計単位に対する販売価格を決定するためのヒエラルキーに従う。公正価値に関するVSOEが利用できない場合、類似の商品またはサービスを類似する状況の顧客に単独で販売する売り手である第三者による証拠 (TPE) を、公正価値を決定するために用いる。公正価値に関するVSOEおよびTPEのいずれも存在しない場合、当社は販売価格に関する最善の見積り (BESP) を当該会計単位のために用いる。当社のBESPは、当社が通常会計単位を単独で販売する場合の取引価格を示している。

当社は、販売価格を見積る際、市場の状況および企業特有の要素を考慮する。各会計単位の販売価格が設定されると、受領した対価は相対的販売価格に基づき会計単位に配分され、適用可能な収益認識基準はそれぞれ個別の単位に適用される。個別の会計単位である提供済みの要素に配分される契約対価額は、固定または決定可能な契約対価に限られる。もっぱら当社の管理下でない将来の事象の発生による偶発的な支払いは、当該偶発性が解消するまでの間、配分可能な契約対価から除外される。

当社が継続的な履行義務を有する場合、2つの方法のうち1つを用いて収益を認識する。会計単位に基づくサービスの総額を見積ることができるか、かかる履行義務が最善努力に基づき履行される場合、収益は比例履行法を用いて認識される。予想される費用の総額と比較した現在までに発生した費用は、これが完成物の引渡しを表すものとして比例履行の決定に用いられる。予想費用総額見積りの変更は、見積りの変更として将来にわたって計上される。当社が履行すべきサービスの総額を合理的に見積ることはできないが、履行義務が消滅するかまたは重要でなくなる時を合理的に見積ることができる場合、収益は時間基準法を用いて認識される。時間基準法のもとでは、収益は会計単位の見積履行期間にわたり均等に認識されるが、偶発事象の解消前を除く。当社の履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を当社が合理的に見積ることができない場合、履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を合理的に見積ることができるまで、収益は認識されない。収益は、履行の残存見積期間にわたり認識される。各会計単位において要求される努力の水準および当社の履行義務の完成に予想される期間の決定については、実質的な経営陣の判断が必要とされる。

#### 実体的マイルストーンの支払い

当社が締結した提携契約には実体的マイルストーンが含まれている。実体的マイルストーンとは、(i) 当該取決めの締結日において当該事象が達成されるかについて実体的な不確実性があり、(ii) 当該事象の達成の全部または一部が、当社の実績または当社の実績から生じた個別の結果に基づいており、かつ(iii) 当該事象の達成の結果、当社に対する追加的な支払いが発生するという条件を満たす事象をいう。マイルストーンが実体的であるとみなされるためには、当社の達成に関連する支払いは、(i) 過去の実績にのみ関連し、(ii) 取決めに含まれる提供物および支払条件と比較して合理的であり、かつ(iii) マイルストーンの達成に必要とされた当社の努力またはマイルストーンの達成の結果がもたらした提供物の価値の増大と相応していなければならない。

前述のすべての条件が満たされ、当該マイルストーンの支払いが払戻不能である場合にのみ、実体的マイルストーンの支払いは当該マイルストーンの達成後に収益として認識される。支払いが前述の条件を満たすかどうかの決定は、経営陣の判断に関わる。前述の条件のうちいずれかを満たさない場合、得られた支払いは実体的なマイルストーンとはみなされず、したがって、かかる支払いは配分可能な取決め上の対価の一部とみなされ、比例履行または時間基準法のうち適用可能な方法に基づきまた前述の方針にしたがって、かかる履行義務が履行されるとともに収益として認識される。

### 繰延収益

上記の収益認識基準を満たす前に受領した金額は、繰延収益として計上される。

### 法人税

当社は、繰延税金資産および負債を、財務書類または税務申告書においてすでに認識された事象の将来の税効果のため認識する。さらに、当社は、一定の株式報酬に関連する超過税金ベネフィットを認識していない。繰延税金負債および資産は財務書類上の帳簿価額と税務上の資産および負債の差異、営業損失ならびに繰越税額控除に基づき、当該差異または繰越が回収されるかまたは解消されると予想される年度において有効となると考えられる適用税率を用いて測定される。評価性引当金は、繰延税金資産のベネフィットが実現されない可能性が実現される可能性より高いと当社が考える場合に、計上される。

### 株式報酬

株式報酬費用は、持分報奨の見積公正価値に基づき付与日に測定され、見積失権分を控除し、定額法に基づき、必要な役務期間（通常は権利確定期間）にわたり費用として認識される。役員でない従業員に対する持分報奨は、通常、1年後に25%につき権利が確定し、その後毎月48分の1ずつ権利が確定することにより、4年間にわたり権利が確定し行使可能となる。役員に対する持分報奨は、通常、1年後に20%につき権利が確定し、その後毎月60分の1ずつ権利が確定することにより、5年間にわたり権利が確定し行使可能となる。各持分報奨の公正価値は、ブラック・ショールズのオプション価格決定モデルを用いて付与日に見積られる。付与日現在の株式報奨の公正価値の決定には、当社株式の予想ボラティリティ率、予想期間、無リスク金利および予想配当の見積りを含む判断が必要となる。

### 予想期間

当社のオプション価格決定モデルにおいて使用される予想期間は、当社の株式報奨が残存すると予想される期間を表示し、単純化された手法に基づき決定される。単純化された手法は、権利確定期間およびオプションの契約期間の単純平均を用いる。当社におけるストック・オプション行使の実績は、予想オプション期間を見積る合理的な基準を提供しないことから、当社は単純化された手法を用いて予想オプション期間を決定している。

### 予想ボラティリティ率

当社のオプション価格決定モデルにおいて使用されるボラティリティ要因は、類似の公開会社株式のボラティリティ率を用いて見積られる。

### 予想配当

当社は過去に現金配当を支払ったことがなく、当面は、将来的に現金配当を支払う意向はない。従って、当社のオプション価格決定モデルにおいて使用される予想配当はゼロである。

**無リスク金利**

当社のオプション価格決定モデルにおいて使用される無リスク金利は、同等の期間について発行された米国財務省証券のインプライド・イールドに基づいている。当社の株式報奨の予想期間が金利が示される期間に対応していない場合、当社は利率の決定のため入手可能な満期期間から定額補間を行う。

2011年および2012年12月31日に終了した年度に付与されたストック・オプションの公正価値は、ブラック・ショールズのオプション価格決定モデルを用い、以下の仮定を適用して計算された。

	12月31日	
	2011年	2012年
無リスク金利	1.2%-2.1%	1.0%
予想残存期間	6.3年	6.3年
配当利回り	-%	-%
予想ボラティリティ率	65%	50%-65%

**研究開発費**

研究開発費には、給与、研究および開発活動を実施するための外部サービス提供者および開発業務受託機関への支払手数料、研究所備品、ライセンス料、顧問料、ならびに旅費が含まれる。研究開発費は発生時に費用計上される。

**繰延株式発行費用**

将来の株式公開に関して直接生じる外部費用は非流動資産として繰延計上され、将来の株式発行による収入と相殺される。

**後発事象**

経営陣は、2012年12月31日後2013年5月23日までに発生した事象を会計および開示に関連する事項について評価を行った。ただし、2013年11月7日までに起きた事項である注記16を除く。

**注記2.1 株当たり純利益**

当社は1株当たりの純利益の計算を、参加証券に必要とされる2クラス法を用いて行う。当社転換優先株式保有者は普通株式について配当が宣言または支払われる前に、これに優先して配当利益に対し参加権を有するため、当社参加証券には転換優先株式の全シリーズが含まれる。これらの参加証券に配当される未分配配当利益は、普通株主に帰属する純利益の算定にあたり純利益より控除される。

1株当たりの基本純利益は、その期間の普通株主に帰属する純利益を発行済加重平均株式数により除することで算出される。その期間の1株当たりの希薄化後純利益は、普通株主に帰属する純利益を、発行済加重平均普通株式数に希薄効果を有するその他の発行済株式数を加えた数により除することで算出される。当社普通株式の希薄効果を有する株式には、希薄効果を有する発行済ストック・オプション行使が含まれる。希薄化後1株当たり利益計算における希薄効果を有する株式には、当社条件付転換債務は含まれない。同債務は、条件付転換債務契約に定められる通り、最低250万米ドルかつ1株あたり3.50米ドルの適格新規株式公開の発生により転換される。2012年12月31日現在、当該事象は発生しておらず、従って条件付転換債務の保有者は未分配利益に対する権利を有さない。当該事象が発生した場合、条件付転換債務は、シリーズC優先株式に中間的に転換されたのち、普通株式3,636,364株に転換される。



下表は、当該期間の1株当たりの希薄化後純利益の計算に用いられる分子と分母を調整するものである(単位:千米ドル、千株)。

	12月31日終了年度	
	2011年	2012年
分子:		
普通株主に帰属する純利益	\$ 1,682	\$ 1,122
分母:		
発行済加重平均株式数 - 基本	11,897	11,901
ストック・オプションの希薄効果	148	257
発行済加重平均株式数 - 希薄化後	12,045	12,158

当該期間において、発行済普通株式取得にかかる逆希薄効果を有するオプションは存在しなかった。

2012年12月31日終了年度の普通株主に帰属する未監査の仮定1株当たり純利益は、条件付転換債務および優先株式の普通株式への自動転換が期首に生じたものと仮定して計算される。下表は2012年12月31日終了年度における1株当たりの未監査の仮定基本および希薄化後純利益の計算を示す(単位:千米ドル、千株)。

	2012年 12月31日 終了年度
分子:	
純利益	\$ 4,178
条件付転換債務に対する支払利息(税引後)	75
仮定純利益	\$ 4,253
分母:	
発行済加重平均株式数 - 基本	11,901
条件付転換債務 - 仮定転換に基づく	3,636
優先株式 - 仮定転換に基づく	10,814
仮定発行済加重平均株式数 - 基本	26,351
ストック・オプションの希薄効果	257
仮定発行済加重平均株式数 - 希薄化後	26,608

### 注記3. リスクの集中

2011年および2012年12月31日現在ならびに同日終了年度において、当社の全収益および未収金は、大塚製薬との提携契約によって発生したものである。

### 注記4. セグメント報告

当社は1つのセグメント、すなわち医薬製品開発において事業活動を行う。当社のすべての重要な資産は米国に所在する。2011年および2012年12月31日終了年度において、年度中の全収益は米国において発生した。

## 注記5．提携およびライセンス契約

### エミクススタト提携

2008年、当社は大塚製薬と、当社の化合物であるエミクススタトについて、米国、カナダおよびメキシコ（以下「共通テリトリー」という。）におけるドライ型AMDおよびその他の潜在的適応症に関する共同開発および商業化につき正式契約を締結した。同契約に基づき、当社は欧州、南アメリカ、中央アメリカ、カリブ諸国およびアフリカ（以下「Acucelaテリトリー」という。）において全権利を保持し、大塚製薬はアジア、中東および世界のその他の地域における特定の市場（以下「大塚製薬テリトリー」という。）において同化合物の開発および商業化に関する排他的権利を取得した。大塚製薬は同契約締結にあたり、当社に対し、5百万米ドルの払戻不能のライセンス料を前払いで支払った。

本契約において大塚製薬は、共通テリトリーにおけるフェーズ2までの全開発活動について最高40百万米ドルまで資金提供する旨合意した。フェーズ2における開発費用が40百万米ドルを超過する場合、大塚製薬は、その単独裁量により、(i) 契約を終了するか、(ii) 契約を継続し40百万米ドルを超過する全開発費用を当社と均等に負担するかを選択することができる。2011年において、開発活動費用は40百万米ドルを超過し、大塚製薬は契約を継続し、開発費用を当社と均等に負担することに合意した。本契約においてフェーズ3費用は当社と大塚製薬の間で均等に負担する旨定められている。更に、本契約に基づき、当社は総額82.5百万米ドルに上る開発マイルストーンを受領する可能性がある。本契約の共同開発部分は共同開発委員会（以下「JDC」という。）が定める。当社は以下の通り開発マイルストーンを受領する可能性がある。

#### i. 第1 適応症 - 55百万米ドル

- a. 米国におけるフェーズ2b/3臨床試験開始により5百万米ドル
- b. 米国におけるフェーズ3臨床試験開始、またはフェーズ3において第2臨床試験が不要である場合には、米国におけるFDAに対する新薬承認申請（以下「NDA」という。）提出により5百万米ドル
- c. 米国におけるFDAに対するNDA提出により15百万米ドル
- d. 米国におけるFDAによるNDA承認の受領により20百万米ドル
- e. 日本の規制当局による販売承認申請に対する承認の受領により10百万米ドル

#### ii. 第2 適応症 - 27.5百万米ドル

- a. 米国におけるフェーズ3臨床試験開始により5百万米ドル
- b. 米国におけるFDAに対するNDA提出により7.5百万米ドル
- c. 米国におけるFDAによるNDA承認の受領により10百万米ドル
- d. 日本の規制当局による販売承認申請に対する承認の受領により5百万米ドル

本契約に基づき、大塚製薬はフェーズ2およびフェーズ3開発費用のうち当社負担分を担保付約束手形の形で資金提供する。当該約束手形には、(a) 利息は日次で発生し、年間360日ベースで計算され、当社に対し貸付けられた全額に対して貸付日から全額支払われるまで発生すること、(b) 未払利息は年次で複利となること、(c) 適用金利は四半期毎にその時々の実効金利、すなわち各暦四半期の第1営業日にウォール・ストリート・ジャーナル紙の「Money Rates」欄に記載される3か月ロンドン銀行間取引金利（以下「LIBOR」という。）に、3%を加えた数字を反映するために調整されること、ならびに(d) 全額米ドルにより支払われることが定められている。本契約には、大塚製薬に対し、共通テリトリーおよびAcucelaテリトリーの両方における、純利益およびロイヤリティ支払いに対する当社持分、ならびに関連提携化合物および提携製品の所有権ならびに前提となる知的財産権の当社持分について第一優先担保権を付与する担保権合意が含まれる。

借入金、提携契約に基づく将来の製品販売または北米および大塚製薬単独のテリトリー外における契約に基づき開発された提携化合物および提携製品の販売もしくはライセンスにより収入が発生した場合においてのみ、返済される。

本契約は資金提供を受けた開発の要素を含むため、担保付約束手形に基づく当社の大塚製薬に対する債務が、借入金返済に関わる債務として計上されるべきか、または契約上の役務を提供する債務として計上されるべきかを判断するため、当社は本契約を評価した。貸金返還債務が存在しないと結論に至るためには、当社から大塚製薬への研究開発に関連する財務リスクの移転が、実体的かつ真正である必要がある。当社は、当社の大塚製薬に対する債務は、契約上の役務を提供する債務であると判断した。何故なら返済は開発結果に将来の経済的便益が存在することのみに依存しているからである。結果として本契約に基づく当社負担分の開発費用として大塚製薬より受領した金額は、収益として認識される。2012年12月31日に終了した年度内において、前述のとおり偶発的要因により返済義務を負うものとして、約15.4百万米ドルの収益を認識した。2012年12月31日現在、偶発的返済義務を負う提供資金に対し372千米ドルの利息が生じており、前述の債務とともに偶発的に返済義務がある。

商業化がなされた場合、当社は共通テリトリーにおいて国別ベースで共同販売を行う選択権を行使することができる。製品の共同販売を選択した市場において、大塚製薬および当社は、共通テリトリー内の製品販売による費用および収益を均等に分配する。当社が共通テリトリー内の国または複数の国において共同販売を行うことを選択しない場合、大塚製薬は当社が共同販売を選択しない共通テリトリー内の国または複数の国における提携製品の年間純売上高総額について当社に対してロイヤリティを支払う。各当事者は、それぞれの単独テリトリーにおける年間純売上高総額について2%のロイヤリティを他方当事者に対して支払う。これに加え、当社は総額175百万米ドルに上る純売上高マイルストーンを受領する可能性を有する。共同販売の合意については共同商業化委員会(以下「JCC」という。)が定める。マイルストーンは以下の通り。

i. 全適応症

- a. 世界における全提携製品の年間売上高総額が250百万米ドルに達した場合、25百万米ドル
- b. 世界における全提携製品の年間売上高総額が500百万米ドルに達した場合、50百万米ドル
- c. 世界における全提携製品の年間売上高総額が1,000百万米ドルに達した場合、100百万米ドル

本契約には3年間の研究プログラム(以下「研究プログラム」という。)も含まれる。同研究プログラムの目的は、主たる提携化合物につき第2適応症を特定し、提携化合物のバックアップ化合物の開発を行うことである。2011年に終了した研究プログラムの3年間において、大塚製薬は当社に対し、年間5百万米ドルを四半期毎に支払った。本契約は、契約期間中に当社が(提携活動とは独立して)発見または開発した新化合物のライセンスについての優先交渉権を大塚製薬に提供する。

大塚製薬と当社との間の契約は複数要素の取決めであり、当社は同取決め中の要素には、ライセンス、研究プログラムおよび研究開発サービスが含まれる旨判断した。

大塚製薬に対して付与されるライセンスは、大塚製薬にとり単独で価値を有するものであるため、個別の会計単位であると判断された。大塚製薬は、当社により提供される開発またはリサーチ・プログラム・サービスとは独立してライセンス付与または知的財産の開発を行うことができるため、当社はライセンスの正味現在価値の測定を行ったところ、契約開始時におけるライセンスの単体見積売却価格はライセンス料として受領された取決め対価を超過した。提供済み要素に対して配分される価値は、取決め対価を超過することはできないことから、契約実施時が支払期日であり、そして支払われた取決め対価5百万米ドルがライセンスに配分された。

開発に関する活動は大塚製薬にとり単独で価値を有するため、当社はこれらのサービスが個別の会計単位としての基準を満たすものと判断した。BESPは、提供サービス価値についての当社の分析および類似の開発サービスを提供する第三販売者により請求される料金の検討に基づいており、当社によるBESPを表す。開発努力に基づく収益は、サービスが実施されるとともに認識される。2011年および2012年12月31日終了年度において、当社は開発活動関連収益として、それぞれ17,779千米ドルおよび19,329千米ドルを認識した。

研究プログラムに関する活動は大塚製薬にとり単独で価値を有するため、当社はこれらのサービスが個別の会計単位としての基準を満たすものと判断した。研究プログラムにおいて想定されるサービスの種類は、第三者によっても実施可能なものである。研究サービスについて請求される料金は、第三販売者が類似研究サービスについて請求する価格に対し競争力を有すると当社は判断した。研究プログラム販売価格についての当社BESPIは150万米ドルであり、契約対価と一致する。研究活動による収益は、比例履行法により認識された。2011年において当社は研究活動関連収益として3,890千米ドルを認識した。研究期間は2011年中に終了した。

当社は取決めにおける開発および純売上高マイルストーンを評価し、それぞれASC 605-28「収益認識 - マイルストーン法」によるマイルストーンの基準を充たすものと判断した。当社は、実体的マイルストーン全体の達成を条件とする対価を、そのマイルストーンが達成された期間において認識する。2011年もしくは2012年12月31日終了年度、または2012年3月31日に終了した3か月間の期間において、開発または純売上高マイルストーンは達成されなかった。2013年3月31日に終了した3か月間の期間において、当社はフェーズ2b/3臨床試験開始に関連した500万米ドルのマイルストーン支払いを受領し収益として認識した。

### レバミピド提携

2008年、大塚製薬および当社は、ドライアイ治療に用いられる大塚製薬の専有化合物であるレバミピドの共同開発につき正式契約を締結した。本契約に基づき両当事者は、米国におけるレバミピドの臨床開発努力において提携することを合意した。大塚製薬は当社に対し200万米ドルを前払いで支払い、本契約に基づき、当社は総額300万米ドルに上る臨床開発マイルストーン、ならびに米国および欧州連合における製品の純売上高に対するロイヤリティを受領する可能性を有する。開発マイルストーンは(1)フェーズ3臨床試験の開始により500万米ドル、(2)想定適応症のための製品についてのFDAに対するNDA提出により500万米ドル、および(3)米国における規制当局による想定適応症のための製品の承認により200万米ドルである。本契約に基づき、大塚製薬はすべての臨床開発および商業化費用について負担する。規制当局への申請がなされた場合、本契約は、当社が大塚製薬と米国においてレバミピドを共同販売することができる条件について当事者は交渉を行うことができる旨規定する。

当社は契約を評価し、臨床開発活動が本取決めに基づく唯一の提供物であると判断した。臨床開発努力による収益は、サービスが提供されるとともに認識される。2011年および2012年終了年度において当社は、レバミピド臨床開発活動関連収益として、それぞれ5,869千米ドルおよび13,987千米ドルの収益を認識した。当社は本契約に基づく開発マイルストーンを評価し、それぞれ実体的マイルストーンの基準を充たすと判断した。当社は、実体的マイルストーン全体の達成を条件とする対価を、そのマイルストーンが達成された期間において認識する。2012年において、当社はフェーズ3臨床試験開始に関するマイルストーン支払い150万米ドルを受領し収益として認識した。2011年12月31日終了年度において、開発マイルストーンは達成されなかった。

大塚製薬による200万米ドルの当社に対する前払いによる支払いは、債務超過、重大違反または窪田氏による当社に対する役務の提供の終了により返還対象となる。本契約の返還条項に基づき、当社は2011年および2012年12月31日現在、200万米ドルの支払いを繰延収益として区分している。適切な返還条項が充足された場合には、当社は当該支払いを収益として認識する。

### OPA-6566 提携

2010年、大塚製薬および当社は、緑内障治療に用いられる大塚製薬の専有化合物であるOPA-6566の開発について正式契約を締結した。本契約は当社に、米国におけるOPA-6566の共同開発および共同販売について選択権を付与する。当社が選択権を行使するまで、大塚製薬は開発活動の指揮および費用について責任を負う。当社が選択権を行使した場合、大塚製薬は以下を含む追加的選択権を当社に対し付与する：(1)米国において、緑内障以外の眼科的適応症につきOPA-6566を共同開発および共同販売する権利、(2)米国において、緑内障につき新製剤を共同開発および共同販売する権利、ならびに(3)米国において、眼科的疾患治療に用いられるその他のアデノシンA2a受容体アゴニスト化合物の共同開発および共同販売についての第一交渉権。

当社は契約を評価し、本契約に基づく開発活動が取決めに基づく唯一の提供物であると判断した。開発活動による収益は、サービスが実施されるとともに認識される。2011年および2012年終了年度において当社は、契約履行による収益として、それぞれ6,689千米ドルおよび8,108千米ドルを認識した。

### CEOの継続的関与

当社の大塚製薬との3つの提携取決めは、当社CEOである窪田良氏の継続的関与を必要とする。窪田氏が当社を離れた場合、または当社における同氏の役割もしくは職責の変更が生じた場合、取決めは大塚製薬の選択により終了する。各契約に関し、同条項は米国における第1適応症についてのNDAの承認により失効する。

### 注記6．投資ならびに現金および現金同等物

2011年および2012年12月31日現在の投資ならびに現金および現金同等物には以下が含まれる (単位: 千米ドル)。

	2011年12月31日			
	未実現総額			
	償却原価	評価益	評価損	公正価値
有価証券の種類				
コマーシャルペーパー	\$ 1,125	\$ -	\$ -	\$ 1,125
社債	1,502	-	(1)	1,501
政府保証債	1,408	-	-	1,408
地方債	890	-	-	890
預金証書	6,233	-	(5)	6,228
マネー・マーケット・ファンド	7,691	-	-	7,691
現金	274	-	-	274
	\$ 19,123	\$ -	\$ (6)	\$ 19,117

	2012年12月31日			
	未実現総額			
	償却原価	評価益	評価損	公正価値
有価証券の種類				
コマーシャルペーパー	\$ 797	\$ 1	\$ -	\$ 798
社債	5,969	-	(2)	5,967
地方債	1,225	-	-	1,225
預金証書	6,500	1	-	6,501
マネー・マーケット・ファンド	14,306	-	-	14,306
現金	528	-	-	528
	\$ 29,325	\$ 2	\$ (2)	\$ 29,325

2012年12月31日現在、預金証書のうち750千米ドルが1年超2年未満の期間に満期を迎える。2011年および2012年12月31日現在において保有されるその他すべての投資証券は12か月以内に満期を迎える。

投資ポートフォリオ内の個々の証券について市場価値が測定された。これら投資価額の減少は主に金利の変動によるものであり、一時的な性質のものであると解される。当社は、有価証券の公正価値が原価を下回る期間および程度、発行者の財務状態、ならびに当社の売却意図または償却原価ベースまで回復する前に有価証券を売却する必要性が生じる可能性が生じない可能性より高いか否か等を評価する。2012年12月31日現在、当社はこれらの投資に一時的でない減損が生じているとは考えていない。

## 注記7．公正価値測定

金融資産は、以下の3カテゴリーのいずれかに分類され、開示される。

レベル1 - 活発な市場における、同一の資産および負債の取引相場価格。

レベル2 - 直接的または間接的に観測可能なレベル1以外のインプット (類似の資産もしくは負債の取引相場価格、活発でない市場における取引相場価格、または資産もしくは負債の期間の実質的全体についての観測可能もしくは観測可能な市場データにより裏付けられるその他のインプット)

レベル3 - 市場データがわずかまたは皆無であり、当社が独自の仮定を確立する必要がある観測不可能なインプット

2011年および2012年12月31日現在の経常的に公正価値により測定される当社の金融資産は、以下の通りである (単位: 千米ドル)。

2011年12月31日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 7,691	\$ -	\$ -	\$ 7,691
政府保証債	-	905	-	905
地方債	-	890	-	890
現金同等物合計:	7,691	1,795	-	9,486
現金	274	-	-	274
現金および現金同等物合計:	\$ 7,965	\$ 1,795	\$ -	\$ 9,760
投資:				
コマーシャルペーパー	\$ -	\$ 1,125	\$ -	\$ 1,125
社債	-	1,501	-	1,501
政府保証債	-	503	-	503
預金証書	-	6,228	-	6,228
	\$ -	\$ 9,357	\$ -	\$ 9,357
2012年12月31日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 14,306	\$ -	\$ -	\$ 14,306
地方債	-	1,225	-	1,225
社債	-	586	-	586
現金同等物合計:	14,306	1,811	-	16,117
現金	528	-	-	528
現金および現金同等物合計:	\$ 14,834	\$ 1,811	\$ -	\$ 16,645
投資:				
コマーシャルペーパー	\$ -	\$ 798	\$ -	\$ 798
社債	-	5,381	-	5,381
預金証書	-	6,501	-	6,501
	\$ -	\$ 12,680	\$ -	\$ 12,680

当社のレベル2金融資産には、政府保証債、地方債、コマーシャルペーパー、社債および預金証書が含まれる。これらのレベル2金融資産は、報告された取引、ブローカー・ディーラー相場価格、ビッド、オファーおよびイールドなどを含む類似の有価証券に対する最も関連性のある観測可能なインプットを考慮した価格決定モデルを用いて評価される。

貸借対照表に計上された未収金および買掛金の帳簿価額は、その短期的な性質により、公正価値の概算値を反映したものである。

2011年および2012年12月31日現在、当社は12百万米ドルの関連当事者に対する発行済の条件付転換債務を有していた。2011年および2012年12月31日現在、支払手形の公正価値は、それぞれ41百万米ドルおよび47百万米ドルであった。当社の評価分析は、最初に割引キャッシュフロー・モデルを用いて会社全体の公正価値を見積り、次にかかる価値を当社が発行した多種の負債性および持分証券に割当てる2段階のプロセスを用いて作成される。ブラック・ショールズ・オプション価格決定モデルに基づく当社の評価モデルに従い、債務の優先および転換条項の結果として、かかる価値は条件付転換債務に割当てられる。かかるモデルは、会社の総合的な価値、優先的分配権、無リスク金利、同業他社のボラティリティ率および転換事象のタイミングを考慮するものである。当社の条件付転換債務の評価は、レベル3と見なされる。

## 注記8．有形固定資産

2011年および2012年12月31日現在、当社の固定資産は、以下のとおりに構成された（単位：千米ドル）。

	12月31日	
	2011年	2012年
実験装置	\$ 2,373	\$ 2,374
リース物件改良費	1,740	1,808
オフィス家具および設備	411	432
	4,524	4,614
減価償却累計額	(3,164)	(3,471)
有形固定資産（純額）	\$ 1,360	\$ 1,143

2011年および2012年12月31日に終了した年度において計上された減価償却費は、それぞれ789千米ドルおよび464千米ドルであった。

## 注記9．関連当事者に対する条件付転換債務

2006年5月29日、当社は、元本総額12百万米ドルの無担保約束手形の私募を完了した。これら手形の初回発行およびその後の延長の条件は以下に要約されるとおりである。

初回発行				
元本	\$3,250,000		\$3,250,000	\$5,500,000
発行日	2006年5月29日		2006年5月29日	2006年5月29日
満期日	2009年8月31日		2010年6月30日	2012年11月30日
利率	1.00%		1.00%	1.00%
未払利息	満期における支払い		満期における支払い	満期における支払い
第一回延長				
元本	\$1,234,990	\$2,015,010	\$3,250,000	\$5,500,000
発行日	2009年8月31日		2010年6月30日	2012年11月30日
満期日	2010年8月31日		2011年6月30日	2014年2月28日
利率	1.20%		1.05%	0.94%
未払利息	2010年8月31日まで支払われる		2011年6月30日まで支払われる	2012年11月30日まで、および満期において支払われる
第二回延長				
元本	\$1,234,990	\$2,015,010	\$3,250,000	
発行日	2010年8月31日		2011年6月30日	
満期日	2011年8月31日		2012年6月30日	
利率	1.02%		0.97%	
未払利息	2011年8月31日まで支払われる		2012年6月30日まで支払われる	
第三回延長				
元本	\$624,840	\$610,150	\$2,015,010	\$3,250,000
発行日	2011年8月31日		2011年8月31日	2012年6月30日
満期日	2013年8月31日		2012年8月31日	2013年6月30日
利率	2012年8月31日まで：0.96%		0.96%	0.95%
	2013年8月31日まで：0.96%			
未払利息	2012年8月31日まで支払われ、2年目は初回応当日において前払い		2012年8月31日まで支払われる	2013年6月30日まで支払われる
第四回延長				
元本		\$2,015,010		
発行日		2012年8月31日		
満期日		2013年8月31日		
利率		0.95%		
未払利息		2013年8月31日まで支払われる		

2012年12月31日現在、1年以内に支払期日が到来する条件付転換債務6.5百万米ドル、付随する前払利息費用36千米ドルおよび付随する未払利息費用の4千米ドルは、それぞれ一年以内満期の条件付転換債務、前払費用および流動負債に分類された。支払期日が1年を超過する条件付転換債務5.5百万米ドルは、長期条件付転換債務に分類された。手形には自動延長の条項が含まれる。手形が自動延長される場合、当社は、満期から90日以内に通知を受ける。



条件付転換債務は、1株当たり価額が3.50米ドル以上および純調達総額25百万米ドル以上の確定契約に基づく引受公募の完了により、自動的に普通株式に転換される。転換において発行される株式数は、手形の元本を3.30米ドルで除して決定される(その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割による調整の対象である)。

当社の清算、解散または整理において、当社の資産および資金は、手形保有者が当社の優先株式の保有者が清算分配を支払われるのと同等の優先順位で、すなわち普通株式の保有者がいかなる分配をも受ける前に、これに優先的に、手形に基づくすべての未払元利金の支払いを受けるよう分配される。優先株式および手形の保有者に対して分配される資産が、それぞれの優先的分配権の保有者に対する支払いに不十分である場合、分配のために法的に残存する資産および剰余金は、さもなければ各保有者が受領する権利を有したであろう優先的金額に比例して、優先株式および手形の保有者に対して分配される。

満期日より前における当社の売却もしくは当社の実質上すべての資産の売却、または特定の合併もしくは新設合併取引において、手形の保有者は以下の選択肢を有する。

- ・かかる取引の完了において手形の未払元本および発生した利息のすべてが支払われる。
- ・手形は、手形の保有者が、公募における転換と同様の方法で算出される普通株式を手形の代わりに保有していた場合に、かかる取引の条件に基づき手形の保有者が権利を有したであろう金額と同等の金額により、現金で償還される。
- ・手形は、シリーズC優先株式に転換される。転換により発行される株式数は、手形の未払元本をシリーズC優先株式の当初の発行価額1.10米ドルで除し、決定される。

条件付転換債務には、組込転換条項が含まれ、当社が売却される場合、デリバティブとして分離および区分処理が必要となる。かかるデリバティブは公正価値で計上され、未決済の期間にわたり、その公正価値の変動はその他の利益または費用として認識される。かかるデリバティブの公正価値は、当初から少額である。

手形の保有者であり、当社の株主の一人であるSBIホールディングス株式会社(関連当事者)は、無担保支払手形の利息支払いを、2011年および2012年にそれぞれ63千米ドルおよび420千米ドル受領した。SBIホールディングス株式会社の代表取締役社長兼最高経営責任者は、当社の取締役会(以下「取締役会」という。)の一員である。

## 注記10. 法人税

2012年12月31日現在、当社は2,738千米ドルの繰越欠損金を有しており、研究開発費用の繰越税額控除は1,625千米ドルであった。繰越欠損金および繰越税額控除は、将来の税金負債を相殺するために活用される。繰越欠損金は、2023年から2029年の間に失効し、研究開発費用の税額控除は、2022年から2031年の間に失効する。欠損金の利用は、内国歳入法(IRC)382条により設定される、所有者変更の制限の対象となる可能性がある。年間の制限により、繰越欠損金は活用される前に失効する可能性がある。

繰延税金資産は、財務報告および税務報告の一時的差異により生じる。当社は、当社がベネフィットを実現できる前に繰延税金資産が失効する可能性が失効しない可能性より高い、または将来の税控除可能性が不確実である場合のいずれかにおいて、評価性引当金を設定する。評価性引当金は定期的に見直され、経営陣による繰延税金資産の実現可能性の評価に基づき調整される。2011年12月31日に終了した年度において、当社は、当社の繰延税金資産が実現される可能性は実現されない可能性より高いと判断し、評価性引当金をゼロに減額した。評価性引当金減額の2,632千米ドルは、法人税費用の減額として反映された。

繰延税金資産は以下のとおりである (単位: 千米ドル)。

	12月31日	
	2011年	2012年
繰延税金資産:		
繰越欠損金	\$ 3,790	\$ 811
研究開発費用の繰越税額控除	1,600	1,625
繰延収益	680	680
報酬	662	886
繰延賃借料	160	192
その他税額控除	152	365
有形固定資産	54	106
繰延税金資産合計	\$ 7,098	\$ 4,665
分類:		
短期繰延税金資産	\$ 507	\$ 770
長期繰延税金資産	6,591	3,895
	\$ 7,098	\$ 4,665

以下に示す期間において、当社は、課税所得を有していた (繰越欠損金の活用により相殺された)。2011年および2012年12月31日終了の年度において、当社は、代替ミニマム税制度の対象であった。

法人税費用 (ベネフィット) の内訳は、以下のとおりである (単位: 千米ドル)。

	12月31日終了の年度	
	2011年	2012年
当期	\$ 152	\$ 169
繰延	(2,632)	2,478
合計	\$ (2,480)	\$ 2,647

当社の実行所得税率に対する法定連邦所得税率の調整は、以下のとおりである。

	12月31日終了の年度	
	2011年	2012年
法定税率	34.0%	34.0%
評価性引当金の減額	(54.1)	0.0
繰越損失の活用	(48.1)	0.0
その他 (純額)	3.2	4.8
実効税率	(65.0%)	38.8%

当社は、米国の連邦管轄区域において所得税の申告を行っている。当社はもはや、2008年より前に関する米国連邦レベルの税務当局による税務調査の対象ではない。しかしながら、国税庁 (IRS) は、2008年より前の税年度より繰越された一定の未利用の租税属性を調整することができる。当社が事業を行う管轄区域において、当社は、州所得税の対象ではない。

当社は、税務ポジションのテクニカル・メリットに基づいて、税務当局による調査にあたり、税務ポジションを維持できる可能性が維持できない可能性より高い時にのみ、不確実な税務ポジションからの税務ベネフィットを認識する。財務書類において認識されるかかるポジションからの税務ベネフィットは、最終的な決定において、認識される可能性が50%超である最大のベネフィットに基づき測定される。しかしながら、2011年および2012年12月31日現在ならびに2012年および2013年3月31日現在において、重要な未認識税務ベネフィットはなかった。さらに、当社は、以後12か月間において、未認識税務ベネフィットにおけるいかなる重要な修正も見込んでいない。

当社は、法人税費用において、不確実な税務ポジションに対する当社の負債に関連する利息および罰金を認識している。しかしながら、2011年および2012年12月31日に終了した年度において、未認識税務ベネフィットに関連するいかなる未払利息または罰金もなかった。

繰延税金資産には、2012年度において生じた研究開発費用の税額控除は含まれていない。2013年1月3日に、研究開発費用の税額控除を2012年1月1日まで遡って有効とする2012年米国納税者救済法が成立した。課税立法の影響は、法律が制定された年の中間期において勘案される。したがって、2012年の研究開発費用の税額控除は、2012年12月31日現在の繰延税金資産には含まれず、2013年の繰延税金資産に含まれる。

## 注記11. コミットメント

### リース

当社は、2015年に満了する、解約不能オペレーティング・リース契約に基づき、研究施設および会社オフィス・スペースを賃借している。研究施設のリース契約には、3年間の更新オプションが含まれ、会社オフィスのリースにも、3年間の更新オプションが含まれる。リース・インセンティブは、繰延賃借料債務として認識され、リース期間にわたり賃借費用として償却される。オペレーティング・リースに基づく最低賃借料支払額は、リース期間（無料および減額賃貸期間を含む。）にわたり定額法により認識される。

2012年12月31日現在の、当初または残存リース期間が1年超の解約不能オペレーティング・リースに基づく将来の最低リース支払額は以下のとおりである。

2013年	\$ 923,000
2014年	936,000
2015年	170,000
最低リース支払額合計	<u>\$ 2,029,000</u>

2011年および2012年12月31日終了の年度における賃借費用は、それぞれ958千米ドルおよび849千米ドルであった。

### 信用枠

当社は、リボルビング・クレジットライン・ノートに基づく運転資本に対する5百万米ドルの与信限度額（以下「信用枠」という。）を維持している。信用枠に対する利息は、（ ）銀行が決定する年間変動利率（その時々有効である1か月LIBOR + 1.25%）または（ ）銀行が決定する年間固定利率（適用される固定利率期間の初日に有効であるLIBOR + 1.25%）のいずれかに基づき発生し、毎月支払われる。信用枠における元本の残高は、2014年1月20日に支払期限が到来する。2012年12月31日現在、信用枠における残高はなかった。2012年12月31日現在、法人クレジット・カード・プログラムに基づき留保される0.4百万米ドルにより、借入可能額は4.6百万米ドルであった。2012年12月31日現在、信用枠およびクレジット・カード・プログラムは、約5.8百万米ドルの制限付投資残高により保証されている。

## 注記12. 株主資本

### 普通株式

当社は、60,000,000株の無額面の授権普通株式を保有している。

### 転換優先株式

当社は、52,452,514株の無額面の授権優先株式を保有している。優先株式は1以上のシリーズにより発行可能であり、各シリーズにつき、発行時に取締役会が決定しうる名称、権利、制限、限定および制約が付される。当社はそれぞれ2,734,334株、17,899,998株および31,818,182株のシリーズA、シリーズBおよびシリーズC優先株式を、以下の条件で発行した。

### 転換

シリーズAおよびB優先株式の各株式は、発行後いつでも、保有者による選択により、0.25米ドルを、転換時に有効な転換価額で除して決定される数の普通株式に転換可能である。0.75米ドルの当初転換価額は、その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割に際し調整される。

シリーズC優先株式は、発行後いつでも、保有者による選択により、1.10米ドルを、転換時に有効な転換価額で除して決定される数の普通株式に転換可能である。3.30米ドルの当初転換価額は、その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割に際しに調整される。

シリーズA、BおよびC優先株式は、1株当たり価額が3.50米ドル以上および調達額が総額25百万米ドル以上の確定契約に基づく引受公募の完了により、自動的に普通株式に転換される。

### 清算

当社の清算、解散、整理、当社の売却もしくは当社の実質上すべての資産の売却において、または特定の吸収合併もしくは新設合併取引において、シリーズAおよびB優先株式の保有者は、普通株式の保有者が当社資産のいかなる分配をも受ける前に、優先的に、1株当たり0.75米ドルに、シリーズAおよびB優先株式に対し宣言されたすべての未払配当金と同等の金額を加えた金額を受領する権利を有する。シリーズC優先株式の保有者は、普通株式の保有者が当社資産のいかなる分配もを受ける前に、優先的に、1株当たり1.10米ドルに、シリーズC優先株式に対し宣言されたすべての未払配当金と同等の金額を加えた金額を受領する権利を有する。

シリーズA、BおよびC優先株式および約束手形の保有者に対し分配される資産が、それぞれの優先的分配権の保有者に対する支払いに不十分である場合、分配のために法的に残存する資産および剰余金のすべては、さもなければ各保有者が受領する権利を有したであろう優先的金額に比例して、シリーズA、BおよびC優先株式ならびに約束手形の保有者に対して分配される。必要とされる優先的分配の完了において、分配可能な当社の残存資産は、普通株式の保有者に分配される。

### 配当金

シリーズA、BおよびC優先株式の保有者は、当社の普通株式に対するいかなる配当金の宣言または支払いにも優先して、取締役会による宣言時に、かかる宣言のとおり配当金を受領する権利を有する。かかる配当は非累積的である。

## 投票

各シリーズA、BおよびC優先株式は、議決権の基準日においてそれぞれの優先株式が転換可能である、完全な1普通株式に対し1個の議決権を有する。授権優先株式数の変更、優先株式の保有者の優先権、権利、特権もしくは権限の変更または取引後において当社の株主資本の保有者の議決権が取引後50%未満となる売却、吸収合併もしくは新設合併において、当社は、種類による別個の議決として、シリーズA、BまたはC優先株式の保有者の過半数から、賛成票または書面による同意を得なければならない。

## 注記13. 株式報酬

## ストック・オプション・プラン

取締役会は株式型インセンティブ・プラン（以下「エクイティ・プラン」という。）を採用、承認し、エクイティ・プランでは非適格および適格ストック・オプションが従業員、取締役および相談役に発行され、普通株式を取得できる。エクイティ・プランではまた、制限付株式の発行が可能である（ただし、2012年12月31日までに、制限付株式は発行されていない。）。取締役会は、エクイティ・プランに連動して発行される普通株式2,120,055株を留保している。各オプションの有効期間は10年間である。役員以外の従業員に対する持分報奨は、通常4年間にわたって権利が確定し、行使可能となる（1年後に25%、その後毎月1/48の割合で権利が確定する。）。役員に対する持分報奨は、通常5年間にわたって権利が確定し、行使可能となる（1年後に20%、その後毎月1/60の割合で権利が確定する。）。オプション契約には、オプション行使により取得した株式の売却に関する制限が含まれる。

2011年および2012年12月31日に終了した年度における、当社のエクイティ・プランによるストック・オプションの変動は、以下のとおりである。

	付与可能な株式数	未行使 オプション株式数	オプション株式の 加重平均行使価額	行使可能な オプション数
2010年12月31日現在	1,099,229	668,979	\$ 3.22	354,015
留保株式の増加	300,000	-	-	
付与	(423,500)	423,500	5.22	
行使	-	(3,000)	1.45	
失権	99,342	(99,342)	4.35	
失効	194,834	(194,834)	2.55	
2011年12月31日現在	1,269,905	795,303	4.31	288,988
付与	(253,900)	253,900	9.67	
行使	-	(5,288)	0.36	
失権	204,534	(204,534)	4.64	
失効	28,553	(28,553)	4.97	
2012年12月31日現在	1,249,092	810,828	\$ 5.91	389,440

2011年および2012年12月31日現在における、行使可能なオプションの加重平均行使価額は、それぞれ2.86米ドルおよび3.66米ドルであった。

2011年および2012年12月31日に終了した年度において行使されたストック・オプションの本質的価値の合計は、それぞれ9千米ドルおよび47千米ドルであった。

2011年および2012年12月31日現在における、未行使ストック・オプションの本質的価値の総額は、それぞれ3,124千米ドルおよび3,586千米ドルであった。

2011年および2012年12月31日現在における、行使可能なストック・オプションの本質的価値の総額は、それぞれ1,553千米ドルおよび2,598千米ドルであった。

2011年および2012年において付与されたストック・オプションの付与日における公正価値の加重平均は、それぞれ3.25米ドルおよび5.59米ドルであった。

2012年12月31日現在における、未行使および行使可能なオプションの情報は、以下要約のとおりである。

2012年12月31日			
行使価額	オプション株式数	残存期間の加重平均	
		(年)	行使可能なオプション
\$0.12-\$0.62	40,000	0.91	40,000
\$1.45-\$3.23	180,900	5.64	178,526
\$4.52-\$8.24	336,028	7.40	153,903
\$9.30-\$10.33	253,900	9.56	17,011
	810,828	7.36	389,440

2011年および2012年12月31日現在における、行使可能なオプションの残存契約期間の加重平均は、それぞれ6.35年および5.53年であった。

2011年および2012年12月31日現在、エクイティ・プランに基づき付与された、未確定の株式型報酬取決めに関連する未認識報酬費用の合計は、それぞれ1,470千米ドルおよび1,771千米ドルであった。かかる費用は、それぞれ加重平均である3.71年および3.58年にわたって認識される予定である。2011年および2012年12月31日に終了した年度において権利確定した株式の公正価値の合計は、それぞれ422千米ドルおよび482千米ドルであった。当社は現在、株式報奨の行使を充足するために、未発行の授権株式を利用している。

#### CEO株式契約

当社は、窪田良氏との間に雇用契約を結んでいる。当社の普通株式の新規公募まで、当社は、雇用契約に基づき、窪田氏が、転換ベースで当社の発行済議決権付株式の51%以上の持ち株比率を維持するために必要な頻度で、ストックオプションを付与すること、または制限付普通株式の購入を認めることを義務付けられている。これらの報奨に基づく株式は、付与日から36か月間に渡り、四半期ごとに消滅する買戻条項の対象である。オプションが行使されるか、または転換証券が当社の株式資本に転換されない限り、窪田氏の持ち株比率の算出において、未行使オプションおよび転換証券は含まれない。各株式付与の取得価額は、有利子償還請求権付約束手形により支払うことができる。雇用契約の条件に基づき、当社は、窪田氏に対してかかる約束手形に基づく元金および窪田氏がかかる賞与を受領することにより発生する追加的な税金（もしあれば）で構成される現金賞与を定期的に支払うことが義務付けられている。

当社は、本契約を株式報酬として扱っている。雇用契約では、窪田氏に対する、役務および業績条件に基づく持分報奨について規定している。付与日および測定日は、取締役会がオプション付与または窪田氏に対する制限付株式の売却を承認する日である。報奨の公正価値は、当社の普通株式の現在の公正価値により設定される。本契約に関連する報酬費用は、一般管理費に含まれる。

当社は、2011年および2012年12月31日に終了した年度において、ストック・オプションの行使に関連し、窪田氏との間に、それぞれ18千米ドルおよび57千米ドルに値する満期3年の約束手形との交換により普通株式をそれぞれ2,278株および5,504株発行する制限付株式購入契約を締結した。本契約の締結と同時に、当社は、窪田氏に対して賞与を支払い、かかる賞与は約束手形債務の支払いおよび報奨に関連する税金を補填するために使用された。当社は、報奨に関連する報酬費用として、それぞれ約30千米ドルおよび89千米ドルを計上した。

## 注記14.401(k)退職プラン

当社は、1986年内国歳入法第401条k項 (改訂済) に基づく従業員退職プランを提供している。最低限の適格要件を満たすすべての従業員は、かかるプランに参加する資格を有する。現在までに、当社はプランのために行われた従業員拠出に対応する拠出を行っていない。

## 注記15. 関連当事者取引

取締役会の一員であるPeter Kresel氏 (経営学修士保有) は、コンサルティング・サービスおよび直接経費の払戻しとして当社から支払いを受けた。Kresel氏のコンサルティング・サービスおよび経費の払戻しに対する支払いは、2011年および2012年において、それぞれ217千米ドルおよび216千米ドルであった。

当社の提携パートナーであり (注記5を参照) 2011年および2012年12月31日に終了した年度における唯一の収益源である大塚製薬は、当社の発行済株式の8.31%を保有しており、株式会社大塚製薬工場は、当社の発行済株式の6.67%を保有している。これらの2事業体は、合計で当社の発行済株式の14.98%を保有する。これらの事業体は、取締役会における代表権を有しない。

当社の株主の一人であるSBIホールディングス株式会社 (関連当事者) は、当社条件付転換債務の保有者である (注記9を参照)。

## 注記16. 後発事象

### エミクススタットのマイルストーン

2013年2月、当社は、米国におけるエミクススタットのフェーズ2b/3臨床試験の開始に関連する開発マイルストーンを達成した。かかるマイルストーンの達成の結果として、大塚製薬から5百万米ドルの支払いが行われる予定であり、当社は、2013年にマイルストーンを達成した際に、かかる収益を認識した。

### CEO株式契約

2013年1月および5月、取締役会は、雇用契約に基づき、先例に倣って窪田氏に対し、制限付株式による報奨を付与した。当社は、2013年において、報奨に関連する報酬費用約786千米ドルを計上した。

### レバミピド契約

2013年9月、大塚製薬は当社とのレバミピド共同開発契約の解除を決定した。その結果、当社は、返還条項により繰延計上されていた大塚製薬からの前受金である2百万米ドルを、2013年9月30日に終了した四半期において収益認識した。かかる返還条項は、当該共同開発契約の解除に伴い満了した。

### 戦略的再編

2013年10月18日、当社は、レバミピド契約の解除に伴い、人員削減を含む費用削減計画を発表した。かかる計画は、当社の全従業員の約35%すなわち約30名の従業員の削減を伴う。かかる人員削減による影響を受ける従業員は、2013年10月21日の週に通知を受けた。

かかる従業員削減の結果、当社は、2013年12月31日に終了する3か月間において、退職金、その他の退職手当および再就職支援に関する費用を計上する予定である。

[前へ](#)      [次へ](#)

## ACUCELA INC.

## 要約貸借対照表

(単位: 千米ドル、千円)

	2012年 12月31日現在		2013年 9月30日現在 (未監査)		2013年 9月30日現在の 仮定株主資本 (未監査)	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>資産</b>						
流動資産:						
現金および現金同等物	16,639	1,704,499	4,572	468,355		
投資	6,927	709,601	17,147	1,756,538		
制限付投資	5,009	513,121	3,040	311,417		
関連当事者との提携からの未収金	8,700	891,228	13,793	1,412,954		
繰延税金資産	770	78,878	770	78,878		
前払費用およびその他の流動資産	1,521	155,811	2,828	289,700		
流動資産合計	39,566	4,053,141	42,150	4,317,846		
有形固定資産 (純額)	1,143	117,088	1,220	124,976		
制限付長期投資	750	76,830	2,725	279,149		
長期繰延税金資産	3,895	399,003	1,912	195,865		
繰延株式発行費用	1,199	122,825	4,122	422,257		
その他の資産	471	48,249	354	36,263		
資産合計	47,024	4,817,138	52,483	5,376,358		
<b>負債および株主資本</b>						
流動負債:						
関連当事者に対する一年以内満期の条件付転換債務	6,500	665,860	12,000	1,229,280		
買掛金	735	75,293	801	82,054		
未払債務	3,109	318,485	5,194	532,073		
未払報酬	2,413	247,187	2,260	231,514		
関連当事者との提携からの繰延収益	570	58,390	-	-		
繰延賃借料およびリース・インセンティブ	249	25,507	259	26,531		
流動負債合計	13,576	1,390,725	20,514	2,101,454		
コミットメント:						
長期繰延賃借料およびリース・インセンティブ、その他	341	34,932	129	13,214		
関連当事者との提携からの長期繰延収益	2,000	204,880	-	-		
関連当事者に対する長期条件付転換債務	5,500	563,420	-	-		
長期負債合計	7,841	803,232	129	13,214		



	2012年 12月31日現在		2013年 9月30日現在 (未監査)		2013年 9月30日現在の 仮定株主資本 (未監査)	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
株主資本：						
転換優先株式 (無額面) 授權株式数						
52,453千株：						
シリーズA株式 (無額面) 授權および 発行済株式数：						
2,734千株 (償還価額：2,051千米ド ル)、仮定発行済株式数：0株	2,051	210,104	2,051	210,104	-	-
シリーズB株式 (無額面) 授權および 発行済株式数：						
17,900千株 (償還価額：13,425千米 ドル)、仮定発行済株式数：0株	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364	-	-
シリーズC株式 (無額面) 授權株式数 31,818千株：						
発行済株式数11,807千株 (償還価 額：12,988千米ドル)、仮定発行済株 式数：0株	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261	-	-
普通株式 (無額面)						
授權株式数 60,000千株						
発行済株式数：						
2012年12月31日現在 11,910千株						
2013年9月30日現在 11,972千株 (未監 査)						
仮定発行済株式数：26,422千株	3,192	326,988	3,654	374,315	43,863	4,493,325
資本剰余金	1,965	201,294	2,638	270,236	2,638	270,236
その他の包括損失累計額	-	-	(13)	(1,331)	(13)	(1,331)
累積欠損	(7,759)	(794,831)	(2,648)	(271,261)	(2,648)	(271,261)
株主資本合計	25,607	2,623,181	31,840	3,261,689	43,840	4,490,969
負債および株主資本合計	47,024	4,817,138	52,483	5,376,358		

添付の要約財務書類の注記を参照のこと。

ACUCELA INC.  
要約損益計算書  
(未監査)

(単位：株式数および1株当たり金額を除き、千米ドル、千円)

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年		2013年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
関連当事者との提携からの収益	35,141	3,599,844	41,695	4,271,235
費用：				
研究開発費	22,695	2,324,875	26,221	2,686,079
一般管理費	5,953	609,825	7,724	791,246
費用合計	28,648	2,934,701	33,945	3,477,325
営業利益	6,493	665,142	7,750	793,910
その他の収益(費用)(純額)：				
受取利息	24	2,458	101	10,346
支払利息	(104)	(10,653)	(88)	(9,014)
その他の収益(費用)(純額)	(21)	(2,151)	71	7,273
その他の収益(費用)合計(純額)	(101)	(10,346)	84	8,604
税引前四半期純利益	6,392	654,796	7,834	802,514
法人税費用	2,283	233,870	2,723	278,944
四半期純利益	4,109	420,925	5,111	523,570
参加証券に帰属する四半期純利益	3,006	307,934	3,735	382,613
普通株主に帰属する四半期純利益	1,103	112,991	1,376	140,957
普通株主に帰属する1株当たり四半期純利益 (米ドル(円))				
基本	0.09	9	0.12	12
希薄化後	0.09	9	0.11	11
普通株主に帰属する1株当たり四半期純利益の計算に使用した加重平均株式数(千株)				
基本	11,900		11,961	
希薄化後	12,147		12,346	
普通株主に帰属する仮定1株当たり四半期純利益 (米ドル(円))				
基本			0.20	20
希薄化後			0.19	19
普通株主に帰属する仮定1株当たり四半期純利益の計算に使用した加重平均株式数(千株)				
基本			26,411	
希薄化後			26,796	

添付の要約財務書類の注記を参照のこと。

## ACUCELA INC.

## 要約包括利益計算書

(未監査)

(単位: 千米ドル、千円)

9月30日に終了した9か月間

	2012年		2013年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
四半期純利益	4,109	420,925	5,111	523,570
その他の包括利益 (損失):				
有価証券未実現純利益 (損失)	4	409	(13)	(1,331)
四半期包括利益	4,113	421,335	5,098	522,239

添付の要約財務書類の注記を参照のこと。

ACUCELA INC.  
要約キャッシュフロー計算書  
(未監査)

(単位: 千米ドル、千円)

	9月30日に終了した9か月間			
	2012年		2013年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>営業活動によるキャッシュフロー</b>				
四半期純利益	4,109	420,925	5,111	523,570
四半期純利益から営業活動に使用された現金(純額)への調整:				
減価償却費	344	35,239	395	40,463
繰延金融費用の償却	8	819	-	-
有形固定資産除却損	10	1,024	-	-
株式報酬	373	38,210	1,006	103,054
市場性有価証券のプレミアムまたはディスカウントの償却	59	6,043	233	23,868
繰延税金	2,110	216,148	1,983	203,138
営業資産および負債の変動:				
関連当事者との提携からの未収金	1,046	107,152	(5,093)	(521,726)
前払費用およびその他の流動資産	(1,254)	(128,459)	(1,307)	(133,889)
買掛金	(1,618)	(165,747)	(22)	(2,253)
未払債務	1,268	129,893	1,516	155,299
未払報酬	228	23,356	(153)	(15,673)
繰延賃借料およびリース・インセンティブ	(33)	(3,380)	(198)	(20,283)
関連当事者との提携からの繰延収益	3,220	329,856	(2,570)	(263,270)
その他の資産	114	11,678	117	11,985
営業活動によるキャッシュフロー(純額)	9,984	1,022,760	1,018	104,283
<b>投資活動によるキャッシュフロー</b>				
売却可能市場性有価証券の取得	(10,890)	(1,115,571)	(20,506)	(2,100,634)
売却可能市場性有価証券の満期償還	5,508	564,239	10,066	1,031,161
有形固定資産の取得	(186)	(19,053)	(472)	(48,351)
投資活動によるキャッシュフロー(純額)	(5,568)	(570,385)	(10,912)	(1,117,825)
<b>財務活動によるキャッシュフロー</b>				
普通株式の発行による収入	3	307	6	614
制限付投資による収入	-	-	(32)	(3,278)
繰延株式発行費用の支払い	(412)	(42,205)	(2,270)	(232,538)
株式報酬による超過法人税ベネフィット	-	-	123	12,600
財務活動によるキャッシュフロー(純額)	(409)	(41,897)	(2,173)	(222,602)
現金および現金同等物の増加(減少)	4,007	410,477	(12,067)	(1,236,143)
現金および現金同等物 - 期首残高	9,760	999,814	16,639	1,704,499
現金および現金同等物 - 四半期末残高	13,767	1,410,291	4,572	468,355
<b>非現金活動に関する補足的開示</b>				
未払繰延株式発行費用	-	-	653	66,893

添付の要約財務書類の注記を参照のこと。

[前へ](#)

[次へ](#)

## ACUCELA INC.

## 要約財務書類 (未監査) に対する注記

## 注記 1 . 重要な会計方針

## 開示基準

付随するAcucela Inc. (以下「当社」という。)の未監査財務書類は、2012年12月31日現在の監査済財務書類と同一の基準により作成され、一般に公正妥当と認められた会計基準 (以下「GAAP」という。)に基づき本書に記載される情報を公正に表示するために必要な通常の反復的調整を含むすべての調整を反映している。本要約期中財務書類は、米国証券取引委員会 (SEC) の規則に基づき作成されており、GAAPに基づく財務書類を表示するために必要な一定の情報および注記による開示を割愛している。これらの財務書類は、2012年12月31日に終了した年度の当社の監査済財務書類およびその注記と共に読まれるべきである。2013年9月30日に終了した9か月間における経営成績は、必ずしも年次または将来の期間における成績を示唆するものではない。

## 見積りの使用

GAAPに準拠した財務書類を作成するため、経営陣は要約財務書類および添付の注記で報告された数値に影響を与える見積りおよび仮定を行わなければならない。実際の結果はこれらの見積りと相違する場合がある。

## 未監査の仮定株主資本および1株当たり四半期純利益

当社の新規株式公開の効力発生日後、これにより1株当たり3.50米ドル以上の価格で250万米ドル以上が調達されることを前提に、すべての発行済み条件付転換債務および優先株式は、自動的に普通株式に転換される。2013年9月30日に終了した9か月間の普通株主に帰属する仮定1株当たり四半期純利益 (未監査) は、条件付転換債務および優先株式のそれぞれ普通株式3,636,364株および普通株式10,813,867株への自動的な転換が発生したと仮定し、かかる転換が表示期間の期首に行われたものとして計算されている。

## 後発事象

経営陣は、2013年11月7日までに発生した事象を会計および開示に関連する事項について評価を行った。

## 注記 2 . 1株当たり四半期純利益

当社は普通株式1株当たりの四半期純利益の計算を、参加証券に必要とされる2クラス法を用いて行う。当社転換優先株式の保有者は転換された場合の普通株式に関する普通株式配当に対し参加権を有するため、当社は、転換優先株式の全シリーズを、参加証券と認識している。普通株式の未分配利益に対する参加権を含むこれらの参加証券に割り当てられる利益は、2クラス法に従い、普通株主に帰属する四半期純利益の算定にあたり四半期純利益より控除される。

1株当たりの基本四半期純利益は、その期間の普通株主に帰属する四半期純利益を発行済加重平均株式数により除することで算出される。その期間の1株当たりの希薄化後四半期純利益は、普通株主に帰属する四半期純利益を、発行済加重平均普通株式数に希薄効果を有するその他の発行済株式数を加えた数により除することで算出される。当社普通株式の希薄効果を有する株式には、希薄効果を有する発行済ストック・オプション行使が含まれる。希薄化後1株当たり利益計算における希薄効果を有する株式には、当社条件付転換債務は含まれない。同債務は、条件付転換債務契約に定められる通り、最低250万米ドルかつ1株あたり3.50米ドルの適格新規株式公開の発生により転換される。2013年9月30日現在、当該事象は発生しておらず、従って条件付転換債務の保有者は未分配利益に対する権利を有さない。当該事象が発生した場合、条件付転換債務は、シリーズC優先株式に中間的に転換されたのち、普通株式3,636,364株に転換される。

下表は、当該期間の1株当たりの希薄化後四半期純利益の計算に用いられる分子と分母を調整するものである(単位:千米ドル、千株)。

	9月30日に終了した9か月間	
	2012年	2013年
分子:		
普通株主に帰属する四半期純利益	\$ 1,103	\$ 1,376
分母:		
発行済加重平均株式数 - 基本	11,900	11,961
ストック・オプションの希薄効果	248	385
発行済加重平均株式数 - 希薄化後	12,147	12,346

2012年および2013年9月30日に終了した9か月間において、発行済普通株式取得にかかる逆希薄効果を有するオプションは存在しなかった。

2013年9月30日終了の9か月間の普通株主に帰属する未監査の仮定1株当たり四半期純利益は、条件付転換債務および優先株式の普通株式への自動転換が期首に生じたものと仮定して計算される。下表は2013年9月30日終了の9か月間における1株当たりの未監査の仮定基本および希薄化後四半期純利益の計算を示す(単位:株式数を除き、千米ドル)。

	2013年9月 30日に終了 した9か月間
分子:	
四半期純利益	\$ 5,111
条件付転換債務に対する支払利息(税引後)	55
仮定四半期純利益	\$ 5,166
分母:	
発行済加重平均株式数 - 基本	11,961
条件付転換債務 - 仮定転換に基づく	3,636
優先株式 - 仮定転換に基づく	10,814
仮定発行済加重平均株式数 - 基本	26,411
ストック・オプションの希薄効果	385
仮定発行済加重平均株式数 - 希薄化後	26,796

### 注記3. リスクの集中

当社のすべての重要な資産は米国に所在し、2012年および2013年9月30日に終了した9か月間において、当社は、米国外において収益を発生していない。2012年および2013年9月30日に終了した9か月間ならびに2012年12月31日および2013年9月30日現在において、当社の全収益および未収金は、大塚製薬との提携契約によって発生したものである。

## 注記4．投資ならびに現金および現金同等物

投資は、公正価値で測定される。現金同等物は、公正価値に近似した原価で測定される。当社の投資は、売却可能有価証券に分類され、未実現利益および損失は実現されるまでその他の包括利益 / 損失に計上される。短期投資は、残存期間が報告日から1年未満のものである。当社の長期投資は、残存期間が報告日から12か月超である投資をいう。投資のプレミアムおよびディスカウントは、当該有価証券の契約期間にわたり受取利息において償却される。

2012年12月31日および2013年9月30日現在の現金、現金同等物および投資には以下が含まれる (単位：千米ドル)。

	2012年12月31日			
	償却原価	未実現 評価益総額	未実現 評価損総額	公正価値
有価証券の種類：				
コマーシャルペーパー	\$ 798	\$ 1	\$ -	\$ 799
社債	5,968	-	(2)	5,966
地方債	1,225	-	-	1,225
預金証書	6,500	1	-	6,501
マネー・マーケット・ファンド	14,306	-	-	14,306
現金	528	-	-	528
	<u>\$ 29,325</u>	<u>\$ 2</u>	<u>\$ (2)</u>	<u>\$ 29,325</u>
	2013年9月30日			
	償却原価	未実現 評価益総額	未実現 評価損総額	公正価値
有価証券の種類：				
コマーシャルペーパー	\$ 1,023	\$ 2	\$ -	\$ 1,025
社債	15,600	-	(5)	15,595
地方債	1,639	-	(1)	1,638
預金証書	4,985	2	(11)	4,976
マネー・マーケット・ファンド	3,360	-	-	3,360
現金	890	-	-	890
	<u>\$ 27,497</u>	<u>\$ 4</u>	<u>\$ (17)</u>	<u>\$ 27,484</u>

表示期間において実現損益はなかった。

投資ポートフォリオ内の個々の証券について市場価値が測定された。これら投資価額の減少は主に金利の変動によるものであり、一時的な性質のものであると解される。当社は、有価証券の公正価値が原価を下回る期間および程度、発行者の財務状態、ならびに当社の売却意図または償却原価ベースまで回復する前に有価証券を売却する必要性が生じる可能性が生じない可能性より高いか否か等を評価する。2013年9月30日現在、当社はこれらの投資に一時的でない減損が生じているとは考えていない。

## 注記5．公正価値測定

当社は、現金同等物を公正価値に近似した帳簿価額で測定し報告しており、投資有価証券 (金融資産) を公正価値で測定し報告している。公正価値とは、測定日に当該資産もしくは負債に関する主要な市場または最も有利な市場において市場参加者間で秩序ある取引が行われた場合に、資産の売却によって受け取るであろう金額もしくは負債の移転のために支払うであろう金額すなわち出口価格をいう。評価技法において、観測可能なインプットを最大限に活用し観測不可能なインプットを最小限に抑える公正価値測定を用いた。



金融資産は、以下の3カテゴリーのいずれかに分類され、開示される。

レベル1 - 活発な市場における、同一の資産および負債の取引相場価格。

レベル2 - 直接的または間接的に観測可能なレベル1以外のインプット (類似の資産もしくは負債の取引相場価格、活発でない市場における取引相場価格、または資産もしくは負債の期間の実質的全体についての観測可能もしくは観測可能な市場データにより裏付けられるその他のインプット)

レベル3 - 市場データがわずかまたは皆無であり、当社が独自の仮定を確立する必要がある観測不可能なインプット

2012年12月31日および2013年9月30日現在の経常的に公正価値により測定される当社の金融資産は、以下の通りである (単位: 千米ドル)。

2012年12月31日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 14,306	\$ -	\$ -	\$ 14,306
地方債	-	1,225	-	1,225
社債	-	586	-	586
現金	528	-	-	528
	<u>\$ 14,834</u>	<u>\$ 1,811</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 16,645</u>
投資:				
コマーシャルペーパー	\$ -	\$ 798	\$ -	\$ 798
社債	-	5,381	-	5,381
預金証書	-	6,501	-	6,501
	<u>\$ -</u>	<u>\$ 12,680</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 12,680</u>
2013年9月30日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 3,360	\$ -	\$ -	\$ 3,360
地方債	-	625	-	625
現金	890	-	-	890
	<u>\$ 4,250</u>	<u>\$ 625</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 4,875</u>
投資:				
コマーシャルペーパー	\$ -	\$ 1,025	\$ -	\$ 1,025
社債	-	15,595	-	15,595
地方債	-	1,013	-	1,013
預金証書	-	4,976	-	4,976
	<u>\$ -</u>	<u>\$ 22,609</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 22,609</u>

当社のレベル2金融資産には、地方債、コマーシャルペーパー、社債および預金証書が含まれる。これらのレベル2金融資産は、報告された取引、ブローカー・ディーラー相場価格、ビッド、オファーおよびイールドなどを含む類似の有価証券に対する最も関連性のある観測可能なインプットを考慮した価格決定モデルを用いて評価される。

2012年12月31日および2013年9月30日現在、当社は12百万米ドルの関連当事者に対する発行済の条件付転換債務を有している。2012年12月31日および2013年9月30日現在、条件付転換債務の見積公正価値は、それぞれ47百万米ドルおよび103百万米ドルであった。当社の評価分析は、最初に割引キャッシュフロー・モデルを用いて会社全体の公正価値を見積り、次にかかる価値を当社が発行した多種の負債性および持分証券に割当てる2段階のプロセスを用いて作成される。ブラック・ショールズ・オプション価格決定モデルに基づく当社の評価モデルに従い、債務の優先および転換条項の結果として、かかる価値は条件付転換債務に割当てられる。かかるモデルは、会社の総合的な価値、優先的分配権、無リスク金利、同業他社のボラティリティ率および転換事象のタイミングを考慮するものである。当社の条件付転換債務の評価は、レベル3と見なされる。

## 注記6．資本取引

### 普通株式：

2012年の最初の9か月間において、普通株式288株の取得オプションが現金による対価の払込みと引換えに行使され、雇用契約に基づき196株が発行され、普通株式163,900株の取得オプションが報酬として付与された。

2013年の最初の9か月間において、普通株式30,219株の取得オプションが現金による対価の払込みと引換えに行使され、雇用契約に基づき31,452株が発行され、普通株式110,250株の取得オプションが報酬として付与された。

### CEO株式契約：

当社は、窪田良氏との間に雇用契約を結んでいる。当社の普通株式の新規公募まで、当社は、雇用契約に基づき、窪田氏が、転換ベースで当社の発行済議決権付株式の51%以上の持ち株比率を維持するために必要な頻度で、ストックオプションを付与すること、または制限付普通株式の購入を認めることを義務付けられている。これらの報奨に基づく株式は、付与日から36か月間に渡り、四半期ごとに消滅する買戻条項の対象である。オプションが行使されるか、または転換証券が当社の株式資本に転換されない限り、窪田氏の持ち株比率の算出において、未行使オプションおよび転換証券は含まれない。各株式付与の取得価額は、有利子償還請求権付約束手形により支払うことができる。雇用契約の条件に基づき、当社は、窪田氏に対してかかる約束手形に基づく元利金および窪田氏がかかる賞与を受領することにより発生する追加的な税金（もしあれば）で構成される現金賞与を定期的に支払うことが義務付けられている。

当社は、本契約を株式報酬として扱っている。雇用契約では、窪田氏に対する、役務および業績条件に基づく持分報奨について規定している。付与日および測定日は、取締役会がオプション付与または窪田氏に対する制限付株式の売却を承認する日である。報奨の公正価値は、当社の普通株式の現在の公正価値により設定される。本契約に関連する報酬費用は、一般管理費に含まれる。

当社は、2013年9月30日に終了した9か月間において、ストック・オプションの行使に関連し、窪田氏との間に、普通株式を31,452株発行する制限付株式購入契約を締結した。総額456千米ドルに値する満期3年の約束手形との交換により、2013年1月に20,816株が1株当たり10.33米ドルで発行され、2013年5月に10,636株が1株当たり22.69米ドルで発行された。本契約の締結と同時に、当社は、窪田氏に対して賞与を支払い、かかる賞与は約束手形債務の支払いおよび報奨に関連する税金を補填するために使用された。当社は、報奨に関連する報酬費用として、約786千米ドルを計上した。

## その他の包括損失累計額の変動 (単位: 千米ドル):

	2012年9月30日に 終了した9か月間		2013年9月30日に 終了した9か月間	
	売却可能有価証券の 未実現保有損失		売却可能有価証券の 未実現保有損失	
期首残高	\$	(6)	\$	-
その他の当期包括利益 (損失)		4		(13)
期末残高	\$	(2)	\$	(13)

## 注記7. 関連当事者に対する条件付転換債務

2013年6月30日、当社は、2013年6月30日に満期を迎えた条件付転換債務の条件について再交渉を行った。満期日は、2014年6月30日まで1年間延長され、利率は年間0.84%に引下げられた。

2013年8月31日、当社は、2013年8月31日に満期を迎えた条件付転換債務の条件について再交渉を行った。満期日は、2014年8月31日まで1年間延長され、利率は年間0.84%に引下げられた。

## 注記8. 法人税

2012年12月31日および2013年9月30日現在、当社において不確実な税務ポジションはなかった。

## 注記9. 関連当事者との提携契約

2013年の最初の9か月間において、当社は、米国におけるエミクススタトのフェーズ2b/3臨床試験の開始に関するマイルストーン支払として5百万米ドルを大塚製薬から受領し、収益として認識した。当社はまた、2013年9月30日現在、エミクススタトの開発における当社の負担分に対する大塚製薬の出資金8.1百万米ドルを受領した。

## レバミピド契約

2013年9月、大塚製薬は当社とのレバミピド共同開発契約の解除を決定した。その結果、当社は、返還条項により繰延計上されていた大塚製薬からの前受金である2百万米ドルを、2013年9月30日に終了した四半期において収益認識した。かかる返還条項は、当該共同開発契約の解除に伴い満了した。

## 注記10. 後発事象

## 戦略的再編

2013年10月18日、当社は、レバミピド契約の解除に伴い、人員削減を含む費用削減計画を発表した。かかる計画は、当社の全従業員の約35%すなわち約30名の従業員の削減を伴う。かかる人員削減による影響を受ける従業員は、2013年10月21日の週に通知を受けた。

かかる従業員削減の結果、当社は、2013年12月31日に終了する3か月間において、退職金、その他の退職手当および再就職支援に関する費用1百万米ドルを計上する予定である。

## 信用枠の解除

2013年12月に、当社は、信用枠を解除することを決定した。結果として、今後は5.8百万米ドルの投資に対する制限がなくなる。

[前へ](#)

[次へ](#)

**ACUCELA INC.**  
**BALANCE SHEETS**  
(in thousands)

	December 31,	
	2011	2012
<b>Assets</b>		
Current assets:		
Cash and cash equivalents .....	\$ 9,760	\$16,639
Investments .....	9,357	6,927
Restricted investments .....	—	5,009
Accounts receivable from collaborations with a related party .....	12,251	8,700
Deferred tax asset .....	507	770
Prepaid expenses and other current assets .....	484	1,521
Total current assets .....	32,359	39,566
Property and equipment, net .....	1,360	1,143
Restricted long-term investments .....	—	750
Long-term deferred tax asset .....	6,591	3,895
Deferred offering costs .....	586	1,199
Other assets .....	599	471
Total assets .....	<u>\$ 41,495</u>	<u>\$47,024</u>
<b>Liabilities and shareholders' equity</b>		
Current liabilities:		
Current maturities of contingently convertible debt, related party .....	\$ 10,765	\$ 6,500
Accounts payable .....	2,684	735
Accrued liabilities .....	1,798	3,109
Accrued compensation .....	1,635	2,413
Deferred revenue from collaborations with a related party .....	—	570
Deferred rent and lease incentives .....	—	249
Total current liabilities .....	16,882	13,576
Commitments		
Long-term deferred rent, lease incentives, and others .....	538	341
Long-term deferred revenue from collaborations with a related party .....	2,000	2,000
Long-term contingently convertible debt, related party .....	1,235	5,500
Total long-term liabilities .....	3,773	7,841
Shareholders' equity:		
Convertible preferred stock, no par value, 52,453 shares authorized:		
Series A, no par value, 2,734 shares authorized, issued, and outstanding (liquidation value of \$2,051) .....	2,051	2,051
Series B, no par value, 17,900 shares authorized, issued, and outstanding (liquidation value of \$13,425) .....	13,387	13,387
Series C, no par value, 31,818 shares authorized, 11,807 shares issued and outstanding (liquidation value of \$12,988) .....	12,771	12,771
Common stock, no par value, 60,000 shares authorized; 11,899 and 11,910 shares issued and outstanding as of December 31, 2011 and 2012, respectively .....	3,133	3,192
Additional paid-in capital .....	1,441	1,965
Accumulated other comprehensive loss .....	(6)	—
Accumulated deficit .....	(11,937)	(7,759)
Total shareholders' equity .....	20,840	25,607
Total liabilities and shareholders' equity .....	<u>\$ 41,495</u>	<u>\$47,024</u>

See accompanying notes to financial statements.

**ACUCELA INC.**  
**STATEMENTS OF INCOME**  
(in thousands, except per share data)

	Year Ended December 31,	
	2011	2012
Revenues from collaborations with a related party .....	\$34,226	\$46,424
Expenses:		
Research and development .....	24,183	31,604
General and administrative .....	6,174	7,787
Total expenses .....	<u>30,357</u>	<u>39,391</u>
Income from operations .....	3,869	7,033
Other income (expense), net:		
Interest income .....	21	27
Interest expense .....	(143)	(138)
Other income (expense), net .....	39	(97)
Total other expense, net .....	<u>(83)</u>	<u>(208)</u>
Income before income tax .....	3,786	6,825
Income tax benefit (expense) .....	2,480	(2,647)
Net income .....	6,266	4,178
Net income attributable to participating securities .....	4,584	3,056
Net income attributable to common shareholders .....	<u>\$ 1,682</u>	<u>\$ 1,122</u>
Net income per share attributable to common shareholders		
Basic .....	<u>\$ 0.14</u>	<u>\$ 0.09</u>
Diluted .....	<u>\$ 0.14</u>	<u>\$ 0.09</u>
Weighted average shares used to compute net income per share attributable to common shareholders:		
Basic .....	11,897	11,901
Diluted .....	12,045	12,158
Pro forma net income per share attributable to common shareholders		
Basic (unaudited) .....		<u>\$ 0.16</u>
Diluted (unaudited) .....		<u>\$ 0.16</u>
Weighted average shares used to compute pro forma net income per share attributable to common shareholders:		
Basic (unaudited) .....		26,351
Diluted (unaudited) .....		26,608

See accompanying notes to financial statements.

ACUCELA INC.  
STATEMENTS OF COMPREHENSIVE INCOME  
(in thousands)

	<u>Year Ended December 31,</u>	
	<u>2011</u>	<u>2012</u>
Net income .....	\$ 6,266	\$ 4,178
Other comprehensive income:		
Net unrealized gain on securities .....	28	6
Comprehensive income .....	<u>\$ 6,294</u>	<u>\$ 4,184</u>

See accompanying notes to financial statements.

ACUCELA INC.  
STATEMENTS OF SHAREHOLDERS' EQUITY  
(in thousands)

	Convertible Preferred Stock			Common Stock		Additional Paid-In Capital	Accumulated Other Comprehensive Income (Loss)	Accumulated Deficit	Total			
	Series A	Series B	Series C	Shares	Amount							
Balance at December 31, 2010	2,734	\$2,051	17,900	\$13,387	11,807	\$12,771	11,894	\$3,110	\$1,019	\$ (34)	\$ (18,203)	\$ 14,101
Stock-based compensation	—	—	—	—	—	—	—	—	422	—	—	422
Common stock issued in connection with stock option exercises	—	—	—	—	—	—	3	5	—	—	—	5
Common stock issued in connection with the restricted stock purchase agreement	—	—	—	—	—	—	2	18	—	—	—	18
Net income	—	—	—	—	—	—	—	—	—	—	6,266	6,266
Unrealized gain on marketable securities available for sale	—	—	—	—	—	—	—	—	—	28	—	28
Balance at December 31, 2011	2,734	2,051	17,900	13,387	11,807	12,771	11,899	3,133	1,441	(6)	(11,937)	20,840
Stock-based compensation	—	—	—	—	—	—	—	—	524	—	—	524
Common stock issued in connection with stock option exercises	—	—	—	—	—	—	5	2	—	—	—	2
Common stock issued in connection with the restricted stock purchase agreement	—	—	—	—	—	—	6	57	—	—	—	57
Net income	—	—	—	—	—	—	—	—	—	—	4,178	4,178
Unrealized gain on marketable securities available for sale	—	—	—	—	—	—	—	—	—	6	—	6
Balance at December 31, 2012	2,734	2,051	17,900	13,387	11,807	12,771	11,910	3,192	1,965	—	(7,759)	25,607

See accompanying notes to financial statements.



**ACUCELA INC.**  
**STATEMENTS OF CASH FLOWS**  
(in thousands)

	Years Ended December 31,	
	2011	2012
<b>Cash flows from operating activities</b>		
Net income .....	\$ 6,266	\$ 4,178
Adjustments to reconcile net income to net cash provided by operating activities:		
Depreciation and amortization .....	789	464
Amortization of deferred financing costs .....	12	10
Loss from the disposal of fixed assets .....	—	79
Stock-based compensation .....	440	581
Amortization of premium/discount on marketable securities .....	193	107
Deferred taxes .....	(2,632)	2,434
Changes in operating assets and liabilities:		
Accounts receivable from collaborations with a related party .....	(5,154)	3,551
Prepaid expenses and other current assets .....	510	(1,037)
Accounts payable .....	1,057	(1,949)
Accrued liabilities .....	(1,518)	1,315
Accrued compensation .....	1,277	778
Deferred rent and lease incentives .....	(313)	48
Deferred revenue from collaborations with a related party .....	(557)	570
Other assets .....	67	117
Net cash provided by operating activities .....	<u>437</u>	<u>11,246</u>
<b>Cash flows from investing activities</b>		
Purchases of marketable securities available for sale .....	(18,433)	(15,580)
Maturities of marketable securities available for sale .....	14,506	12,163
Additions to property and equipment .....	(166)	(326)
Net cash used in investing activities .....	<u>(4,093)</u>	<u>(3,743)</u>
<b>Cash flows from financing activities</b>		
Proceeds from issuance of common stock .....	5	2
Restricted investments income .....	—	(13)
Payments for deferred offering costs .....	(586)	(613)
Net cash used in financing activities .....	<u>(581)</u>	<u>(624)</u>
(Decrease) increase in cash and cash equivalents .....	(4,237)	6,879
Cash and cash equivalents—beginning of year .....	13,997	9,760
Cash and cash equivalents—end of year .....	<u>\$ 9,760</u>	<u>\$ 16,639</u>
<b>Supplemental disclosure</b>		
Cash paid for interest .....	\$ 63	\$ 420
Cash paid for income taxes .....	132	151
Restriction of investments as collateral .....	—	5,750

See accompanying notes to financial statements.



## ACUCELA INC.

## NOTES TO FINANCIAL STATEMENTS

**Note 1. Summary of Business and Significant Accounting Policies****Overview**

Acucela Inc. ("we," "our" and "us") is a clinical-stage biotechnology company that specializes in discovering and developing novel therapeutics to treat and slow the progression of sight-threatening ophthalmic diseases impacting millions of individuals worldwide. We focus on developing oral products based on our proprietary visual cycle modulation, or VCM, compounds to address a variety of retinal diseases, primarily age-related macular degeneration, or AMD, diabetic retinopathy, or DR, and diabetic macular edema, or DME, and potentially Stargardt disease, retinitis pigmentosa and retinopathy of prematurity. Our product candidates are designed to address the root cause of these diseases by reducing toxic by-products and oxidative damage as well as protecting the retina from light damage. The visual cycle is the biological conversion of a photon into an electrical signal in the retina. Our approach to treating and slowing the progression of eye diseases utilizes proprietary compounds that reduce the speed of, or modulate, the visual cycle. We believe that our insight into modulating the visual cycle combined with our deep expertise in ophthalmic research and development enables us to develop product candidates that, if approved, should preserve vision and provide relief to patients worldwide suffering from the debilitating effects of multiple eye diseases.

In 2010, we received Fast Track designation from the U.S. Food and Drug Administration ("FDA") for emixustat hydrochloride ("Emixustat"), an investigational oral treatment for dry AMD.

In 2008, we and Otsuka Pharmaceutical Co., Ltd. ("Otsuka") entered into a definitive agreement to co-develop emixustat, our lead compound for dry AMD. Emixustat is entering in Phase 2b/3 clinical development in the United States.

In 2010, Otsuka and we entered into a definitive agreement to co-develop OPA-6566, Otsuka's compound for the treatment of glaucoma. OPA-6566 has concluded Phase I clinical development. We are currently evaluating further development activities.

In 2008, Otsuka and we also entered into a definitive agreement to co-develop rebamipide ophthalmic suspension ("Rebamipide"), Otsuka's product candidate for the treatment of dry eye. Rebamipide is currently in Phase 3 clinical development in the United States.

**Use of Estimates**

The preparation of financial statements in conformity with accounting principles generally accepted in the United States of America ("GAAP") requires management to make estimates and assumptions that affect the amounts reported in the financial statements and accompanying notes. Actual results could differ from these estimates.

**Unaudited Pro Forma Earnings per Share**

Upon the effective date of our initial public offering of stock, all of the outstanding contingently convertible debt and preferred stock, assuming we raise at least \$25,000,000 at a price of at least \$3.50 per share, will automatically convert into shares of common stock. Unaudited pro forma net income per share attributable to common shareholders for the year ended December 31, 2012 has been computed to give effect to the automatic conversion of the contingently convertible debt and preferred stock into 3,636,364 and 10,813,867 shares of common stock, respectively, as though these conversions had occurred on the original dates of issuance.

***Cash and Cash Equivalents***

Cash and cash equivalents include all short-term, highly liquid investments with an original maturity of three months or less at the date of purchase. Cash equivalents consist of money market funds, municipal bonds, and corporate debt securities.

***Investments***

Investments are composed of commercial paper, corporate debt securities, certificates of deposit, and government-backed securities. Investments with original maturities longer than three months and remaining maturities of less than one year are classified as short-term investments. We consider our investments as available-for-sale. Available-for-sale securities are stated at fair value as of each balance sheet date based on market quotes, and unrealized gains and losses are reflected as a net amount under the caption of accumulated other comprehensive loss. Premiums or discounts arising at acquisition are amortized into earnings.

We periodically evaluate whether declines in fair values of our investments below their cost are other-than-temporary. This evaluation consists of several qualitative and quantitative factors regarding the severity and duration of the unrealized loss, as well as whether it is more likely than not that we will hold the investment until recovery of its amortized cost basis. Realized gains and losses are calculated using the specific identification method. Realized gains and losses and declines in value judged to be other-than-temporary are recorded within the statements of income under the caption other income (expense).

***Restricted Investments***

A portion of our investments are held as collateral to secure our line of credit. These investments are classified and valued consistent with our policy for investments.

***Accounts Receivable***

Our accounts receivable, as of December 31, 2011 and 2012, consist of amounts due from our collaborations with Otsuka (a related party—See Note 15). There was no allowance for doubtful accounts for the periods presented, as we believe all outstanding amounts will be paid based on our contractual arrangements with Otsuka and history of successful collections thereunder and collateral is not required.

***Property and Equipment***

Property and equipment are recorded at cost, less accumulated depreciation. We provide for depreciation of equipment on a straight-line basis over an estimated useful life of five years, except leasehold improvements which are amortized on a straight-line basis over the shorter of the lease term or estimated useful life of the assets.

Expenditures for maintenance and repairs are expensed as incurred.

Long-lived assets held for use are subject to an impairment assessment whenever events or changes in circumstances indicate that the carrying amount may not be recoverable. If the carrying value is no longer recoverable based upon the undiscounted future cash flows of the asset, the amount of the impairment is the difference between the carrying amount and the fair value of the asset. We have recorded no impairment charges for the periods presented.

***Revenue Recognition***

Our business strategy includes entering into collaboration agreements with pharmaceutical companies for the development and commercialization of our product candidates. The terms of the agreements may include

nonrefundable license fees, funding of research and development activities, payments based upon achievement of development milestones, payments based upon achievement of revenue milestones, or royalties on product sales. We recognize revenue when four basic criteria have been met: (a) persuasive evidence of an arrangement exists; (b) delivery has occurred or services rendered; (c) the fee is fixed or determinable; and (d) collectability is reasonably assured.

Revenue recognized for the years ended December 31, 2011 and 2012 consist of amounts derived from our collaboration agreements with Otsuka (a related party—See Note 15).

#### *Multiple Element Arrangements*

Our collaboration agreements are multiple element arrangements that must be analyzed to identify the deliverables included in the agreements and determine if the deliverables qualify as separate units of accounting. Deliverables are considered a separate unit of accounting when all of the following criteria are met: (i) the delivered item has value to the customer on a standalone basis and (ii) if the arrangement includes a general right of return relative to the delivered item, and the delivery or performance of the undelivered item is considered probable and substantially within our control. There are no rights of return in our collaboration agreements.

Arrangement consideration is allocated to the separate units of accounting based on their relative selling prices. We follow a hierarchy to determine the selling price for each unit of accounting, determining first if there is vendor-specific objective evidence (“VSOE”) of fair value (the price at which the goods or services are regularly sold by us on a standalone basis). If VSOE of fair value is not available, third-party evidence (“TPE”) of vendors selling similar goods or services to similarly situated customers on a standalone basis is used to establish fair value. If neither VSOE nor TPE of fair value exists, we use our best estimate of the selling price (“BESP”) for that unit of accounting. Our BESP represents the price at which we would transact if we regularly sold the unit of accounting on a standalone basis.

We consider market conditions and entity-specific factors when estimating the selling price. Once the selling price for each unit of accounting has been established, the consideration received is allocated among the units of accounting based on their relative selling price, and the applicable revenue recognition criteria are applied to each of the separate units. The amount of arrangement consideration allocable to a delivered item that is a separate unit of accounting is limited to arrangement consideration that is fixed or determinable. Payments that are contingent upon the occurrence of future events that are not exclusively within our control are excluded from the allocable arrangement consideration until the contingency is resolved.

When we have continuing performance obligations, revenue is recognized using one of two methods. Where we are able to estimate the total amount of services under a unit of accounting and such performance obligations are provided on a best-efforts basis, revenue is recognized using a proportional performance model. Costs incurred to date compared to total expected costs are used to determine proportional performance, as this is considered to be representative of the delivery of outputs. Changes in estimates of total expected costs are accounted for prospectively as a change in estimates. When we cannot reasonably estimate the total amount of service that is to be performed, but can reasonably estimate when the performance obligation ceases or becomes inconsequential, a time-based method is used to recognize revenue. Under the time-based method, revenue is recognized ratably over the estimated performance period of the unit of accounting, but not before the removal of any contingencies. If we cannot reasonably estimate when our performance obligation either ceases or becomes inconsequential and perfunctory, then revenue is not recognized until we can reasonably estimate when the performance obligation ceases or becomes inconsequential and perfunctory. Revenue is then recognized over the remaining estimated period of performance. Significant management judgment is required in determining the level of effort required and the period over which we are expected to complete our performance obligations under each unit of accounting.



#### *Substantive Milestone Payments*

Our collaboration agreements contain substantive milestones. A substantive milestone is defined as an event that meets the following conditions: (i) there is substantive uncertainty on the date the arrangement is entered into about whether the event will be achieved; (ii) achievement of the event is based in whole, or in part, on either our performance or a specific outcome resulting from our performance; and (iii) achievement of the event results in additional payment due to us. For a milestone to be considered substantive, the payment associated with our achievement must have all of the following characteristics: (i) relate solely to our past performance; (ii) be reasonable relative to all of the deliverables and payment terms in the arrangement; and (iii) be commensurate with either our effort required to achieve the milestone or the enhanced value of the delivered item(s) as a result of the milestone achievement.

Substantive milestone payments are recognized as revenue upon achievement of the milestone only if all of the previous conditions are met and the milestone payments are nonrefundable. Determination as to whether a payment meets the aforementioned conditions involves management's judgment. If any of the aforementioned conditions are not met, the resulting payment would not be considered a substantive milestone and, therefore, the resulting payment would be determined to be part of the allocable arrangement consideration and would be recognized as revenue as such performance obligations are performed under either the proportional performance or time-based methods, as applicable, and in accordance with the policies as described above.

#### *Deferred Revenue*

Amounts received prior to satisfying the above revenue recognition criteria are recorded as deferred revenue.

#### *Income Taxes*

We recognize deferred tax assets and liabilities for the expected future tax consequences of events that have already been recognized in the financial statements or tax returns. In addition, we have not recognized the excess tax benefits associated with certain share-based payments. Deferred tax liabilities and assets are based on the difference between financial statement carrying amounts and the tax basis of assets and liabilities, operating loss, and tax credit carryforwards and are measured using enacted tax rates expected to be in effect in the years the differences or carryforwards are anticipated to be recovered or settled. A valuation allowance is established when we believe that it is more likely than not that benefits of the deferred tax assets will not be realized.

#### *Stock-Based Compensation*

Stock-based compensation expense is measured at the grant date based on the estimated fair value of the equity award and is recognized as expense, less estimated forfeitures, on a straight line basis over the requisite service period, which is generally the vesting period. Equity awards to nonexecutive employees generally vest and become exercisable over a four-year period, with 25% vesting after one year and 1/48 vesting each month thereafter. Equity awards to executives generally vest and become exercisable over a five-year period, with 20% vesting after one year and 1/60 vesting each month thereafter. The fair value of each equity award is estimated on the date of grant using the Black-Scholes option-pricing model. Determining the fair value of stock-based awards at the grant date requires judgment, including estimating the expected volatility of our stock, expected term, risk-free interest rate, and expected dividends.

#### *Expected Term*

The expected term used in our option-pricing model represents the period that our stock-based awards are expected to be outstanding and is determined based on the simplified method. The simplified method uses a simple average of the vesting and original contractual terms of the option. We use the simplified method to determine the expected option term, since our stock option exercise experience does not provide a reasonable basis upon which to estimate the expected option term.

*Expected Volatility*

The volatility factor used in our option-pricing model is estimated using comparable public company stock volatility.

*Expected Dividend*

We have never paid cash dividends and have no present intention to pay cash dividends in the future. Accordingly, the expected dividend used in our option-pricing model is zero.

*Risk-Free Interest Rate*

We base the risk-free interest rate used in our option-pricing model on the implied yield currently available on U.S. Treasury issued with an equivalent term. Where the expected term of our stock-based awards does not correspond with the term for which an interest rate is quoted, we perform a straight-line interpolation to determine the rate from the available term maturities.

The fair value of stock options granted for the years ended December 31, 2011 and 2012 was calculated using the Black-Scholes option-pricing model and applied the following assumptions:

	December 31,	
	2011	2012
Risk-free interest rates .....	1.2%–2.1%	1.0%
Expected life .....	6.3 years	6.3 years
Dividend yield .....	— %	— %
Expected volatility .....	65%	50%–65%

*Research and Development Costs*

Research and development costs include salaries, fees paid to external service providers and contract research organizations to conduct research and development activities, laboratory supplies, license fees, consulting fees, and travel. Research and development costs are expensed as incurred.

*Deferred Offering Costs*

External costs we incurred directly attributable to a future public offering, are deferred and recorded as noncurrent assets and will be charged against any proceeds of the future offering.

*Subsequent Events*

Management has evaluated events occurring subsequent to December 31, 2012, through May 23, 2013, except for note 16, as to which the date is November 7, 2013, for accounting and disclosure implications.

**Note 2. Net Income Per Share**

We compute net income per share using the two-class method required for participating securities. Our participating securities include all series of our convertible preferred stock, as the holders are entitled to participate in any dividends prior and in preference to dividends declared or paid on the common stock. Undistributed earnings allocated to these participating securities are subtracted from net income in determining net income attributable to common shareholders.

Basic net income per share is calculated by dividing net income attributable to common shareholders by the weighted average number of shares outstanding for the period. Diluted net income per share is calculated by

dividing net income attributable to common shareholders by the weighted average number of shares of the common stock outstanding and other dilutive securities outstanding during the period. The potential dilutive shares of our common stock include the exercise of outstanding stock options that are dilutive. Dilutive securities in our diluted EPS calculation do not include our contingently convertible debt, which are convertible upon the occurrence of a qualified initial public offering of at least \$25,000,000 and \$3.50 per share, as defined in the contingently convertible debt agreement. As of December 31, 2012, such an event has not occurred and accordingly the holders of the contingently convertible debt have no rights to our undistributed earnings. Upon such an event, the contingently convertible debt will be convertible into 3,636,364 common shares, after an intermediate conversion into Series C preferred shares.

The following tables reconcile the numerator and denominator used to calculate diluted net income per share for the periods presented (in thousands):

	Year Ended December 31,	
	2011	2012
Numerator:		
Net income attributable to common shareholders . . .	\$ 1,682	\$ 1,122
Denominator:		
Weighted-average shares outstanding—basic . . . . .	11,897	11,901
Dilutive effect of stock options . . . . .	148	257
Weighted average shares outstanding—diluted . . . . .	12,045	12,158

There were no antidilutive options to purchase shares of common stock outstanding for the periods presented.

Unaudited pro forma net income per share attributable to common shareholders for the year ended December 31, 2012 has been computed to give effect to the automatic conversion of the contingently convertible debt and preferred stock into common stock as though these conversions had occurred at the beginning of the fiscal period. The following table sets forth the computation of our unaudited pro forma basic and diluted net income per share during the year ended December 31, 2012 (in thousands):

	Year Ended December 31, 2012
Numerator:	
Net income . . . . .	\$ 4,178
Interest expense on contingently convertible debt, net of tax . .	75
Pro forma net income . . . . .	\$ 4,253
Denominator:	
Weighted average shares outstanding—basic . . . . .	11,901
Contingently convertible debt—pro forma conversion . . . . .	3,636
Preferred stock—pro forma conversion . . . . .	10,814
Pro forma weighted average shares outstanding—basic . .	26,351
Dilutive effect of stock options . . . . .	257
Pro forma weighted average shares outstanding—diluted . .	26,608

### Note 3. Concentration of Risk

During the years ended December 31, 2011 and 2012 and as of the periods then ended, all of our revenues and accounts receivable were derived from the collaboration agreements with Otsuka.

**Note 4. Segment Reporting**

We operate in one segment, pharmaceutical product development. All of our significant assets are located in the United States. During the years ended December 31, 2011 and 2012, all revenue during the year was generated in the United States.

**Note 5. Collaboration and License Agreements*****Emixustat Collaboration***

In 2008, we entered into a definitive agreement with Otsuka to co-develop and commercialize emixustat, our compound, for the dry form of AMD and for other potential indications in the United States, Canada, and Mexico ("Shared Territory"). Under the agreement, we retained all rights in Europe, South America, Central America, the Caribbean, and Africa ("Acucela Territory"), and Otsuka acquired the exclusive development and commercialization rights to the compound in Asia, the Middle East, and selected markets in the rest of the world ("Otsuka Territory"). Otsuka paid us a \$5,000,000 nonrefundable up-front license fee upon its entry into the agreement.

Under the agreement, Otsuka agreed to fund all development activities in the Shared Territory through Phase 2, up to \$40,000,000. If the Phase 2 development costs exceed \$40,000,000, Otsuka could have, at its sole discretion, either (i) terminated the agreement or (ii) continued the agreement and share equally with us all Phase 2 development costs in excess of \$40,000,000. In 2011, the cost of development activities exceeded \$40,000,000, and Otsuka agreed to continue the agreement and equally share development costs with us. Phase 3 costs are to be shared equally by Otsuka and us under the agreement. In addition, under the agreement, we have the potential to receive development milestones totaling \$82,500,000. The co-development portion of the agreement is governed by a Joint Development Committee ("JDC"). We may earn development milestones as follows:

- i. Initial Indication—\$55,000,000
  - a. \$5,000,000 upon initiation of a Phase 2b/3 clinical trial in the United States
  - b. \$5,000,000 upon initiation of a Phase 3 clinical trial in the United States, or the filing of a New Drug Application ("NDA") with the FDA in the United States, if a second Phase 3 clinical trial is not needed
  - c. \$15,000,000 upon filing of a NDA with the FDA in the United States
  - d. \$20,000,000 upon receipt of approval by the FDA of an NDA in the United States
  - e. \$10,000,000 upon receipt of approval by the regulatory authority of a marketing approval application in Japan
- ii. Second Indication—\$27,500,000
  - a. \$5,000,000 upon initiation of a Phase 3 clinical trial in the United States
  - b. \$7,500,000 upon filing of an NDA with the FDA in the United States
  - c. \$10,000,000 upon receipt of approval by the FDA of an NDA in the United States
  - d. \$5,000,000 upon receipt of approval by the regulatory authority of a marketing approval application in Japan

Under the agreement, Otsuka will fund our share of the Phase 2 and Phase 3 development costs in the form of a secured promissory note. The promissory note provides that (a) interest will accrue daily and be calculated on the basis of 360 days per year and be payable on all amounts advanced to us from the date of advance until paid in full; (b) unpaid interest will compound annually; and (c) the applicable interest rate will be adjusted.



quarterly to reflect the then-effective rate equal to the three-month London InterBank Offered Rate ("LIBOR") in the "Money Rates" column of The Wall Street Journal as of the first business day of each calendar quarter, plus 3%; and (d) all amounts are payable in U.S. dollars. The agreement includes a security interest agreement that grants Otsuka a first priority interest on our interests in net profits and royalty payments, and on our interests in ownership of the related collaboration compounds and collaboration products and the underlying intellectual property rights, both in the Shared Territory and the Acucela Territory.

The loan is repayable only in the event that proceeds are generated by any future product sales under the collaboration agreement or by the sale or license of collaboration compounds and collaboration products developed under the agreement outside North America and Otsuka's sole territory.

As the agreement contains elements of funded development, we evaluated the agreement to determine if our obligation to Otsuka under the secured promissory note should be accounted for as a liability to repay a loan or as an obligation to perform contractual services. To conclude that a liability to repay a loan does not exist, the transfer of the financial risk involved with research and development from us to Otsuka must be substantive and genuine. We have determined that our obligation to Otsuka should be accounted for as an obligation to perform contractual services because repayment depends solely on the results of development having future economic benefit. Consequently, amounts received from Otsuka for our share of development costs under the agreement are recognized as revenue. Through the year ended December 31, 2012, we had recognized revenue of approximately \$15,400,000, which is contingently repayable as described above. As of December 31, 2012, the contingently repayable funding has accrued \$372,000 of interest, which is contingently repayable along with the above.

Upon commercialization, we may exercise our option to co-promote in the Shared Territory on a country-by-country basis. In markets where we opt to co-promote the product, Otsuka and we equally share all expenses and profits from sales of the product in the Shared Territory. If we do not elect to co-promote in a country or countries in the Shared Territory, Otsuka shall pay us royalties on the annual aggregate net sales of collaboration products in the country or countries in the Shared Territory for which we did not elect to participate in co-promotion. Each party shall pay the other party a royalty of 2% on annual aggregate net sales of collaboration products in their sole territories. In addition, we have the potential to receive net sales milestones totaling \$175,000,000. The co-promotion arrangement is governed by a Joint Commercialization Committee ("JCC"). The milestones are as follows:

- i. All Indications
  - a. \$25,000,000 upon reaching \$250,000,000 in aggregate annual worldwide sales of all collaboration products
  - b. \$50,000,000 upon reaching \$500,000,000 in aggregate annual worldwide sales of all collaboration products
  - c. \$100,000,000 upon reaching \$1,000,000,000 in aggregate annual worldwide sales of all collaboration products

The agreement also includes a three-year research program (the "Research Program"), the purpose of which was to identify a second indication for the lead collaborative compound and to conduct development on a backup compound for the collaborative compound. During the three years of the Research Program, which ended in 2011, Otsuka paid us \$5,000,000 per year, payable on a quarterly basis. The agreement also provides Otsuka with a right of first negotiation to license new compounds discovered or developed by us (independent of the collaboration activities) during the agreement term.

Our agreement with Otsuka is a multiple element arrangement, and we have determined that the elements within the arrangement consist of the license, the Research Program, and research and development services.



The license granted to Otsuka was determined to be a separate unit of accounting because it has value to Otsuka on a standalone basis. Because Otsuka may license and develop the intellectual property independent of the development or research program services that are to be provided by us, we conducted a net present value valuation of the license, and it was determined that the estimated standalone selling price for the license at inception of the agreement exceeded the arrangement consideration received for the license fee. Since the value assigned to a delivered element cannot exceed the arrangement consideration, the arrangement consideration of \$5,000,000 due and paid upon execution of the agreement was assigned to the license.

We have determined that the activities associated with development meet the criterion for a separate unit of accounting, since these services have value to Otsuka on a standalone basis. BEBP is based on the Company's analysis of the value of the services provided and consideration of the fees charged by third party vendors for similar development services and represent our BEBP. Revenue from development efforts is recognized as services are performed. In the years ended December 31, 2011 and 2012, we recognized \$17,779,000 and \$19,329,000, respectively, of revenue associated with development activities.

We have determined that the activities associated with the Research Program meet the criterion for a separate unit of accounting, since these services have value to Otsuka on a standalone basis. The types of services contemplated under the Research Program may be performed by a third party. We have determined that the fees charged for the research services are competitive with the price other third-party vendors charge for similar research services. Our BEBP of the selling price for the Research Program was \$15,000,000, which equals the agreement consideration. Revenue from the research activities was recognized under a proportional performance model. In 2011, we recognized \$3,890,000 of revenue associated with research activities. The research period ended during 2011.

We evaluated the development and net sales milestones in the arrangement and determined that they each meet the criteria of a milestone under ASC 605-28, *Revenue Recognition-Milestone Method*. We recognize consideration that is contingent upon achievement of a substantive milestone in its entirety in the period in which the milestone is achieved. No development or net sales milestones were achieved during the years ended December 31, 2011 or 2012 or the three months ended March 31, 2012. During the three months ended March 31, 2013, we received and recognized as revenue the \$5,000,000 milestone payment associated with the initiation of the Phase 2b/3 clinical trial.

#### ***Rebamipide Collaboration***

In 2008, Otsuka and we entered into a definitive agreement to co-develop rebamipide, Otsuka's proprietary compound for the treatment of dry eye. Under the agreement, the parties agreed to collaborate in the clinical development efforts for rebamipide in the United States. Otsuka paid us a \$2,000,000 up-front payment and, under the agreement, we have the potential to receive clinical development milestones totaling \$30,000,000 and royalties on net sales of the product in the United States and the European Union. Development milestones are as follows: (1) \$5,000,000 upon initiation of a Phase 3 clinical trial; (2) \$5,000,000 upon filing with the FDA of an NDA for the product for the plan indication; and (3) \$20,000,000 upon regulatory approval of the product for the plan indication in the United States. Under the agreement, Otsuka shall be responsible for all clinical development and commercialization expenses. Upon regulatory filing, the agreement provides that the parties may negotiate the terms under which we may co-promote rebamipide with Otsuka in the United States.

We evaluated the agreement and determined that the clinical development activities represented the only deliverable under the arrangement. Revenue from clinical development efforts is recognized as services are performed. During the years ended 2011 and 2012 we recognized \$5,869,000 and \$13,987,000, respectively, of revenue associated with the rebamipide clinical development activities. We evaluated the development milestones under the agreement and determined that they each meet the criteria of a substantive milestone. We recognize consideration that is contingent upon achievement of a substantive milestone in its entirety in the period in which the milestone is achieved. In 2012, we received and recognized as revenue the \$5,000,000

milestone payment associated with the initiation of the Phase 3 clinical trial. No development milestones were achieved during the year ended December 31, 2011.

Otsuka's \$2,000,000 up-front payment to us is subject to refund upon insolvency, material breach, or termination of Dr. Kubota's services to us. Due to the refund provisions in the agreement, we classified the \$2,000,000 payment as deferred revenue at December 31, 2011 and 2012. When the appropriate refund provisions are satisfied, we will recognize the payment as revenue.

#### **OPA-6566 Collaboration**

In 2010, Otsuka and we entered into a definitive agreement to develop OPA-6566, Otsuka's proprietary compound for the treatment of glaucoma. The agreement grants us an opt-in right to co-develop and co-promote OPA-6566 in the United States. Until we exercise our opt-in right, Otsuka will have responsibility for directing development activities and costs. Upon our exercise of the opt-in right, Otsuka will grant us additional opt-in rights, which include: (1) the right to co-develop and co-promote OPA-6566 for ophthalmological indications in the United States other than for glaucoma; (2) the right to co-develop and co-promote new formulations of OPA-6566 for glaucoma in the United States; and (3) a right of first negotiation to co-develop and co-promote other adenosine A2a receptor agonist compounds for the treatment of ophthalmologic diseases in the United States.

We evaluated the agreement and determined that the development activities under the agreement represented the only deliverable under the arrangement. Revenue from development activities is recognized as services are performed. During the years ended December 31, 2011 and 2012, we recognized \$6,689,000 and \$8,108,000, respectively, of revenues in performance of the agreement.

#### **Continued Involvement of the CEO**

The Company's three collaboration arrangements with Otsuka require the continuing involvement of our CEO, Dr. Ryo Kubota. In the event of the departure of Dr. Kubota from the Company or a change in his role or responsibilities with the Company, the arrangements are subject to termination, at the option of Otsuka. For each agreement, this provision expires upon the approval of the NDA for the first indication in the United States.

#### **Note 6. Investments and Cash and Cash Equivalents**

Investments and cash and cash equivalents as of December 31, 2011 and 2012 consisted of the following (in thousands):

	December 31, 2011			
	Amortized Cost	Gross Unrealized		Fair Value
Holding Gains		Holding Losses		
Types of security:				
Commercial paper .....	\$ 1,125	\$ —	\$ —	\$ 1,125
Corporate debt securities .....	1,502	—	(1)	1,501
Government-backed securities .....	1,408	—	—	1,408
Municipal bonds .....	890	—	—	890
Certificates of deposit .....	6,233	—	(5)	6,228
Money market funds .....	7,691	—	—	7,691
Cash .....	274	—	—	274
	<u>\$19,123</u>	<u>\$ —</u>	<u>\$ (6)</u>	<u>\$19,117</u>

	December 31, 2012			
	Amortized Cost	Gross Unrealized		Fair Value
Holding Gains		Holding Losses		
Types of security:				
Commercial paper .....	\$ 797	\$ 1	\$—	\$ 798
Corporate debt securities .....	5,969	—	(2)	5,967
Municipal bonds .....	1,225	—	—	1,225
Certificates of deposit .....	6,500	1	—	6,501
Money market funds .....	14,306	—	—	14,306
Cash .....	528	—	—	528
	<u>\$29,325</u>	<u>\$ 2</u>	<u>\$ (2)</u>	<u>\$29,325</u>

As of December 31, 2012, \$750,000 of certificates of deposit mature in greater than one year, but less than two years. All other investment securities held at December 31, 2011 and 2012 mature within 12 months.

Market values were determined for each individual security in the investment portfolio. The declines in value of these investments are primarily related to changes in interest rates and are considered to be temporary in nature. We evaluate, among other things, the duration and extent to which the fair value of a security is less than its cost, the financial condition of the issuer, and our intent to sell, or whether it is more likely than not we will be required to sell the security before recovery of the amortized cost basis. We do not consider these investments to be other-than-temporarily impaired as of December 31, 2012.

#### Note 7. Fair Value Measurements

Financial assets are classified and disclosed in one of the following three categories:

Level 1—Quoted prices in active markets for identical assets and liabilities,

Level 2—Inputs other than Level 1 that are observable, either directly or indirectly, such as quoted prices for similar assets or liabilities; quoted prices in markets that are not active; or other inputs that are observable or can be corroborated by observable market data for substantially the full term of the assets or liabilities, and

Level 3—Unobservable inputs in which there is little or no market data available, which requires us to develop our own assumptions.

Our financial assets measured at fair value on a recurring basis as of December 31, 2011 and 2012 were as follows (in thousands):

	December 31, 2011			
	Level 1	Level 2	Level 3	Total
Cash equivalents:				
Money market funds .....	\$ 7,691	\$ —	\$—	\$ 7,691
Government-backed securities .....	—	905	—	905
Municipal bonds .....	—	890	—	890
Total cash equivalents: .....	<u>7,691</u>	<u>1,795</u>	<u>—</u>	<u>9,486</u>
Cash .....	274	—	—	274
Total cash and cash equivalents: .....	<u>\$ 7,965</u>	<u>\$ 1,795</u>	<u>\$—</u>	<u>\$ 9,760</u>
Investments:				
Commercial paper .....	\$ —	\$ 1,125	\$—	\$ 1,125
Corporate debt securities .....	—	1,501	—	1,501
Government-backed securities .....	—	503	—	503
Certificates of deposit .....	—	6,228	—	6,228
	<u>\$ —</u>	<u>\$ 9,357</u>	<u>\$—</u>	<u>\$ 9,357</u>

	December 31, 2012			Total
	Level 1	Level 2	Level 3	
<b>Cash equivalents:</b>				
Money market funds .....	\$14,306	\$ —	\$—	\$14,306
Municipal bonds .....	—	1,225	—	1,225
Corporate debt securities .....	—	586	—	586
Total cash equivalents: .....	14,306	1,811	—	16,117
Cash .....	528	—	—	528
Total cash and cash equivalents: .....	\$14,834	\$ 1,811	\$—	\$16,645
<b>Investments:</b>				
Commercial paper .....	\$ —	\$ 798	\$—	\$ 798
Corporate debt securities .....	—	5,381	—	5,381
Certificates of deposit .....	—	6,501	—	6,501
	\$ —	\$12,680	\$—	\$12,680

Our level 2 financial assets include government-backed securities, municipal bonds, commercial paper, corporate debt securities, and certificates of deposits. These level 2 financial assets are valued using pricing models that consider the most relevant observable inputs available for similar securities, including such items as reported trades, broker/dealer quotes, bids, offers, and yields.

The carrying amounts reflected in the balance sheets for accounts receivable and accounts payable approximate fair value due to their short-term nature.

We had \$12,000,000 of contingently convertible debt with a related party outstanding as of December 31, 2011 and 2012. At December 31, 2011 and 2012, the fair value of the notes payable is \$41,000,000 and \$47,000,000, respectively. Our valuation analysis was prepared using a two-step process that initially estimated the fair value of the entire company, using a discounted cash flow model, and next allocated this value to the various debt and equity securities we have issued. Value was allocated to the contingently convertible debt as the result of the preferences and conversion features of the notes under our valuation model of the Company, which is based on the Black-Scholes option pricing model. This model considers overall value of the entity, liquidation preferences, risk free rates, volatility rates of peer companies, and time to a conversion event. Our valuation of the contingently convertible debt is considered to be Level 3.

#### Note 8. Property and Equipment

Property and equipment as of December 31, 2011 and 2012 consist of the following (in thousands):

	December 31,	
	2011	2012
Laboratory equipment .....	\$ 2,373	\$ 2,374
Leasehold improvements .....	1,740	1,808
Office furniture and equipment .....	411	432
	4,524	4,614
Less accumulated depreciation and amortization .....	(3,164)	(3,471)
Property and equipment, net .....	\$ 1,360	\$ 1,143

The depreciation and amortization expense recorded for the years ended December 31, 2011 and 2012 was \$789,000 and \$464,000, respectively.



**Note 9. Contingently Convertible Debt with Related Party**

On May 29, 2006, we completed a private placement of unsecured promissory notes in an aggregate principal amount of \$12,000,000. The terms of the initial issuance and subsequent extensions of these notes is outlined as follows:

Initial Issuance				
Principal	\$3,250,000		\$3,250,000	\$5,500,000
Issue Date	May 29, 2006		May 29, 2006	May 29, 2006
Maturity Date	August 31, 2009		June 30, 2010	November 30, 2012
Interest Rate	1.00%		1.00%	1.00%
Interest Payable	Upon Maturity		Upon Maturity	Upon Maturity
First Extension				
Principal	\$1,234,990	\$2,015,010	\$3,250,000	\$5,500,000
Issue Date	August 31, 2009		June 30, 2010	November 30, 2012
Maturity Date	August 31, 2010		June 30, 2011	February 28, 2014
Interest Rate	1.20%		1.05%	0.94%
Interest Payable	Paid through August 31, 2010		Paid through June 30, 2011	Paid through November 30, 2012; Upon Maturity
Second Extension				
Principal	\$1,234,990	\$2,015,010	\$3,250,000	
Issue Date	August 31, 2010		June 30, 2011	
Maturity Date	August 31, 2011		June 30, 2012	
Interest Rate	1.02%		0.97%	
Interest Payable	Paid through August 31, 2011		Paid through June 30, 2012	
Third Extension				
Principal	\$624,840	\$610,150	\$2,015,010	\$3,250,000
Issue Date	August 31, 2011		August 31, 2011	June 30, 2012
Maturity Date	August 31, 2013		August 31, 2012	June 30, 2013
Interest Rate	0.96% through August 31, 2012; 0.96% through August 31, 2013		0.96%	0.95%
Interest Payable	Paid through August 31, 2012; 2 <sup>nd</sup> year prepaid at first anniversary		Paid through August 31, 2012	Paid through June 30, 2013
Fourth Extension				
Principal		\$2,015,010		
Issue Date		August 31, 2012		
Maturity Date		August 31, 2013		
Interest Rate		0.95%		
Interest Payable		Paid through August 31, 2013		

Contingently convertible debt due in one year or less of \$6,500,000, corresponding prepaid interest expense of \$36,000, and corresponding interest payable of \$4,000 have been classified as current maturities of contingently convertible debt, prepaid expense, and current liabilities, respectively, as of December 31, 2012. \$5,500,000 of contingently convertible debt due in excess of one year has been classified as long-term contingently convertible debt. The notes contain provisions for automatic extension. We will be notified within 90 days from the maturity date if the notes will be automatically extended.

The contingently convertible debt automatically convert into shares of common stock upon the closing of a firm commitment underwritten public offering at a price of not less than \$3.50 per share and aggregate net proceeds of not

less than \$25,000,000. The number of shares issued upon conversion is determined by dividing the principal of the note by \$3.30, which is subject to adjustment for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

In the event of a liquidation, dissolution, or winding-up of our company, our assets and funds shall be distributed such that the note holders are paid all outstanding principal and interest under the notes in the same priority as the holders of our preferred stock are paid the liquidation distribution prior and in preference to any distribution to the holders of common stock. If the assets available for distribution among the holders of preferred stock and notes are insufficient to permit the payment to such holders of their respective liquidation preference, then the assets and surplus funds that remain legally available for distribution shall be distributed ratably among the holders of preferred stock and notes in proportion to the preferential amount each holder would otherwise be entitled to receive.

In the event that a sale of our company or a sale of substantially all of our assets, or upon a certain merger or consolidation transaction, prior to the maturity date, the note holders have the following options:

- The entire unpaid principal amounts of the notes and accrued interest thereon are paid upon the closing of such transaction.
- The notes are redeemed for an amount in cash equal to the amount to which the note holders would have been entitled pursuant to the terms of such transaction if, instead of the notes, the note holders held a number of shares of common stock as calculated in the same manner as the conversion upon public offering.
- The notes are converted into shares of Series C preferred stock. The number of shares issued upon conversion is determined by dividing the unpaid principal of the notes by the original issue price of the Series C preferred stock of \$1.10.

The contingently convertible debt includes an embedded conversion feature, in the event that we are sold which requires bifurcation and separate accounting as a derivative. This derivative is recorded at its fair value, with changes in fair value recognized as other income or expense over the period it is outstanding. The fair value of this derivative since inception has been immaterial.

SBI Holdings, Inc. (a related party), the holder of the notes and one of our shareholders, received payment for interest on the unsecured promissory notes of \$63,000 and \$420,000 in the years ended 2011 and 2012, respectively. The representative director, president, and chief executive officer of SBI Holdings, Inc. is a member of our board of directors (the "Board").

#### **Note 10. Income Taxes**

As of December 31, 2012, we had net operating loss ("NOL") carryforwards of \$2,738,000 and research and development tax credit carryforwards of \$1,625,000. The carryforwards are available to offset future tax liabilities. The NOL carryforwards expire between 2023 to 2029 and the research and development tax credits expire between 2022 to 2031. Utilization of net operating losses may be subject to ownership change limitations established by Internal Revenue Code ("IRC") Section 382. The annual limitation may result in the expiration of net operating loss carryforwards before they can be utilized.

Deferred tax assets arise from temporary differences between financial and tax reporting. We will establish a valuation allowance if either it is more likely than not that the deferred tax assets will expire before we are able to realize their benefits or the future deductibility is uncertain. Periodically, the valuation allowance is reviewed and adjusted based on management's assessments the realizability of deferred tax assets. During the year ended December 31, 2011, we reduced our valuation allowance to zero because we believe that it is more likely than not that our deferred tax assets will be realized. A reduction in the valuation allowance of \$2,632,000 is reflected as a reduction to income tax expense.

Deferred tax assets are as follows (in thousands):

	December 31,	
	2011	2012
Deferred tax assets:		
Net operating loss carryforwards .....	\$3,790	\$ 811
Research and development (R&D) tax credit carryforwards .....	1,600	1,625
Deferred revenue .....	680	680
Compensation .....	662	886
Deferred rent .....	160	192
Other tax credits .....	152	365
Property and equipment .....	54	106
Total deferred tax asset .....	<u>\$7,098</u>	<u>\$4,665</u>
Reported as:		
Current deferred tax asset .....	\$ 507	\$ 770
Long-term deferred tax asset .....	6,591	3,895
	<u>\$7,098</u>	<u>\$4,665</u>

For the periods presented, we had taxable income that was offset by the utilization of the net operating loss carryforwards. In the years ended December 31, 2011 and 2012 we were subject to the alternative minimum tax.

The components of the tax expense (benefit) are as follows (in thousands):

	Years Ended December 31,	
	2011	2012
Current .....	\$ 152	\$ 169
Deferred .....	(2,632)	2,478
Total .....	<u>\$ (2,480)</u>	<u>\$ 2,647</u>

The reconciliation of the statutory federal income tax rate to our effective income tax rate is as follows:

	Year Ended December 31,	
	2011	2012
Statutory rate .....	34.0%	34.0%
Reduction of the valuation allowance .....	(54.1)	0.0
Utilization of loss carryforwards .....	(48.1)	0.0
Other, net .....	3.2	4.8
Effective tax rate .....	<u>(65.0%)</u>	<u>38.8%</u>

We file our income tax return in the U.S. federal jurisdiction. We are no longer subject to U.S. federal tax examinations by tax authorities for the years before 2008. However, the Internal Revenue Service ("IRS") could adjust certain unused tax attributes carried forward from tax years prior to 2008. Based on the jurisdictions in which we operate, we are not subject to state income taxes.

We recognize the tax benefit from an uncertain tax position only if it is more likely than not that the tax position will be sustained on examination by the taxing authorities, based on the technical merits of the position. The tax benefits recognized in the financial statements from such a position are measured based on the largest benefit that has a greater than 50% likelihood of being realized upon ultimate settlement. However, there are no material unrecognized tax benefits as of December 31, 2011 and 2012 and as of March 31, 2012 and 2013. Furthermore, we do not anticipate any significant changes in our unrecognized tax benefits over the next 12 months.

We recognize interest and penalties related to our liabilities for uncertain tax positions in income tax expense. However, during the years ended December 31, 2011 and 2012 we did not have any accrued interest or penalties associated with any unrecognized tax benefits.

Deferred tax assets do not include R&D credits generated for 2012. The American Taxpayer Relief Act of 2012 was signed into law on January 3, 2013, which retroactively extended the R&D Credit back to January 1, 2012. The effect of tax legislation is taken into account in the interim period in which the law was enacted. Therefore, the 2012 R&D credits are not contained in the deferred tax assets as of December 31, 2012, but will be included in 2013.

## Note 11. Commitments

### Leases

We lease laboratory and corporate office space under noncancelable operating leases expiring in 2015. The lease agreement for the laboratory facility includes one three-year renewal options, and the lease for the corporate office includes one three-year renewal option. Lease incentives are recognized as deferred rent liabilities and amortized to rent expense over the term of the lease. Minimum rent payments under operating leases are recognized on a straight-line basis over the term of the lease, including any periods of free rent and reduced rent.

Future minimum lease payments under noncancelable operating leases (with initial or remaining lease terms in excess of one year) as of December 31, 2012 are as follows:

2013 .....	\$ 923,000
2014 .....	936,000
2015 .....	170,000
Total minimum lease payments .....	<u>\$2,029,000</u>

Rent expense was \$958,000 and \$849,000, respectively, in the years ended December 31, 2011 and 2012, respectively.

### Credit Facility

We maintain a \$5,000,000 line of credit for working capital pursuant to revolving line of credit note (the "Line of Credit"). Interest on the Line of Credit accrues, and is due, monthly either at (I) at a fluctuating rate per annum determined by the bank to be one and twenty five hundredths percent (1.25%) above the Daily One Month LIBOR Rate in effect from time to time, or (II) at a fixed rate per annum determined by the bank to be one and twenty five hundredths percent (1.25%) above LIBOR in effect on the first day of the applicable Fixed Rate Term. Any principal amount outstanding on the Line of Credit is payable on January 20, 2014. No amounts were outstanding under the facility as of December 31, 2012. As of December 31, 2012, the borrowing availability is \$4,600,000 due to \$400,000 being reserved under the corporate credit card program. The line of credit and credit card program are secured by our restricted investment balances of approximately \$5,800,000 as of December 31, 2012.

## Note 12. Shareholders' Equity

### Common Stock

We have 60,000,000 shares of common stock authorized without par value.



### *Convertible Preferred Stock*

We have 52,452,514 shares of preferred stock authorized without par value. The preferred stock is issuable in one or more series, each with such designations, rights, qualifications, limitations, and restrictions as the Board may determine at the time of issuance. We have designated 2,734,334; 17,899,998; and 31,818,182 shares as Series A, Series B, and Series C preferred stock, respectively, with the following terms:

#### *Conversion*

Each share of Series A and B preferred stock is convertible at any time after issuance at the option of the holder into such number of common stock shares as is determined by dividing \$0.25 by the conversion price in effect at the time of conversion. The original conversion price of \$0.75 will be adjusted for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

Each share of Series C preferred stock is convertible at any time after issuance at the option of the holder into such number of common stock shares as is determined by dividing \$1.10 by the conversion price in effect at the time of conversion. The original conversion price of \$3.30 will be adjusted for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

Shares of Series A, B, and C preferred stock automatically convert into shares of common stock upon the closing of a firm commitment underwritten public offering at a price of not less than \$3.50 per share and aggregate net proceeds of not less than \$25,000,000.

#### *Liquidation*

In the event of any liquidation, dissolution, winding-up of our company, sale of our company or substantially all of our assets, or upon a certain merger or consolidation transaction, the holders of Series A and B preferred stock will be entitled to receive, prior and in preference to any distribution of any of our assets to the holders of common stock, the amount of \$0.75 per share plus an amount equal to all declared but unpaid dividends of the Series A and B preferred stock. The holders of Series C preferred stock will be entitled to receive, prior and in preference to any distribution of any of our assets to the holders of common stock, the amount of \$1.10 per share, plus an amount equal to all declared, but unpaid dividends of the Series C preferred stock.

If the assets available for distribution among the holders of Series A, B, and C preferred stock and promissory notes shall be insufficient to permit the payment to such holders of their respective liquidation preference, then the entire assets and surplus funds then remaining legally available for distribution shall be distributed ratably among the holders of Series A, B, and C preferred stock and promissory notes in proportion to the preferential amount each holder would otherwise be entitled to receive. Upon completion of required preferential distributions, any of our remaining assets available for distribution shall be distributed among the holders of common stock.

#### *Dividends*

The holders of Series A, B, and C preferred stock are entitled to receive dividends when and as declared by the Board in preference to any declaration or payment of any dividend on our common stock. Such dividends are not cumulative.

#### *Voting*

Each share of Series A, B, and C preferred stock has one vote for each full share of common stock into which its respective shares of preferred stock could be converted on the record date for the vote. We must receive an affirmative vote or written consent from a majority of the holders of Series A, B, or C preferred stock, voting

as a separate class, for any change in the number of authorized preferred shares; changes in the preferences, rights, privileges, or powers of the preferred shareholders; or sale, merger, or consolidation in which the holders of our capital stock retain less than 50% of the voting power after the transaction.

### Note 13. Stock-Based Compensation

#### Stock Option Plan

The Board has adopted and approved equity-based incentive plans (the "Equity Plans") which provide for the issuance of nonqualified and incentive stock options to employees, board members, and consultants to acquire shares of common stock. The Equity Plans also allow for the issuance of restricted stock, although no restricted stock had been issued under the equity plans through December 31, 2012. The Board has reserved 2,120,055 shares of common stock to be issued in conjunction with the Equity Plans. The term of each option is ten years. Equity awards to nonexecutive employees generally vest and become exercisable over a four-year period, with 25% vesting after one year and 1/48 vesting each month thereafter. Equity awards to executives generally vest and become exercisable over a five-year period, with 20% vesting after one year and 1/60 vesting each month thereafter. The option agreements include restrictions on the sale of shares acquired by the exercise of options.

Our Equity Plan stock option activity for the years ended December 31, 2011 and 2012 is summarized as follows:

	Shares Available for Grant	Number of Option Shares Outstanding	Weighted Average Exercise Price of Option Shares	Options Exercisable
Balance at December 31, 2010	1,099,229	668,979	\$3.22	354,015
Increase in reserved shares	300,000	—	—	—
Granted	(423,500)	423,500	5.22	—
Exercised	—	(3,000)	1.45	—
Forfeited	99,342	(99,342)	4.35	—
Expired	194,834	(194,834)	2.55	—
Balance at December 31, 2011	1,269,905	795,303	4.31	288,988
Granted	(253,900)	253,900	9.67	—
Exercised	—	(5,288)	0.36	—
Forfeited	204,534	(204,534)	4.64	—
Expired	28,553	(28,553)	4.97	—
Balance at December 31, 2012	1,249,092	810,828	5.91	389,440

The weighted average exercise price of exercisable options at December 31, 2011 and 2012 was \$2.86 and \$3.66, respectively.

The total intrinsic value of stock options exercised during the years ended December 31, 2011 and 2012 was \$9,000 and \$47,000, respectively.

The aggregate intrinsic value of stock options outstanding at December 31, 2011 and 2012 was \$3,124,000 and \$3,586,000, respectively.

The aggregate intrinsic value of stock options exercisable at December 31, 2011 and 2012 was \$1,553,000 and \$2,598,000, respectively.

The weighted average grant date fair value of stock options granted in 2011 and 2012 was \$3.25 and \$5.59, respectively.

Information concerning outstanding and exercisable options at December 31, 2012 is summarized as follows:

Exercise Prices	December 31, 2012		
	Number of Option Shares	Weighted Average Remaining Contractual Life (Years)	Options Exercisable
\$0.12-\$0.62 .....	40,000	0.91	40,000
\$1.45-\$3.23 .....	180,900	5.64	178,526
\$4.52-\$8.24 .....	336,028	7.40	153,903
\$9.30-\$10.33 .....	253,900	9.56	17,011
	<u>810,828</u>	<u>7.36</u>	<u>389,440</u>

The weighted average remaining contractual life of exercisable options at December 31, 2011 and 2012 was 6.35 years and 5.53 years, respectively.

As of December 31, 2011 and 2012, there was \$1,470,000 and \$1,771,000, respectively, of total unrecognized compensation cost related to nonvested share-based compensation arrangements granted under the Equity Plans. That cost is expected to be recognized over a weighted average period of 3.71 and 3.58 years, respectively. The total fair value of shares vested during the years ended December 31, 2011 and 2012 was \$422,000 and \$482,000, respectively. We currently use authorized and unissued shares to satisfy share award exercises.

#### **CEO Equity Agreement**

We have an employment agreement with Dr. Ryo Kubota. Until the initial public offering of our common stock, we are obligated pursuant to the employment agreement to grant stock options or allow Dr. Kubota to purchase restricted shares of common stock as often as necessary to maintain Dr. Kubota's equity position in our company equal to at least 51% of our issued and outstanding voting common stock on an as-converted basis. The shares under these awards are subject to repurchase provisions that lapse quarterly over 36 months from the date of grant. Outstanding options and convertible securities are not included in the calculation of Dr. Kubota's equity position unless the options are exercised or the convertible securities are converted into our capital stock. The purchase price of each stock grant may be made by an interest-bearing full recourse promissory note. Per the terms of the employment agreement, we are obligated to periodically pay Dr. Kubota cash bonuses consisting of principal and interest amounts due under such promissory notes and additional taxes incurred by Dr. Kubota as a result of receiving such bonuses, if any.

We treat this arrangement as share-based compensation. The employment agreement provides equity awards to Dr. Kubota subject to service and performance conditions. The grant and measurement date is the date at which the Board approves the grant of the options or sale of the restricted stock to Dr. Kubota. The fair value of the award is established as the current fair value of our common stock. Compensation expense related to this arrangement is included in general and administrative expense.

During the years ended December 31, 2011 and 2012, in connection with stock option exercises, we entered into a restricted stock purchase agreement with Dr. Kubota for the issuance of 2,278 and 5,504 shares, respectively, of our common stock in exchange for a three-year promissory note in the total amount of \$18,000 and \$57,000, respectively. Concurrent with the execution of the agreement, we paid a bonus to Dr. Kubota, which was in turn used to repay the promissory note and as compensation for taxes associated with the award. We recorded approximately \$30,000 and \$89,000, respectively, in compensation expense in connection with the award.

**Note 14. 401(k) Retirement Plan**

We sponsor an employee retirement plan under Section 401(k) of the Internal Revenue Code of 1986, as amended. All employees who meet minimum eligibility requirements are eligible to participate in the plan. To date, we have not matched employee contributions made to the plan.

**Note 15. Related-Party Transactions**

Peter Kresel, M.B.A., a member of the Board, received payment from us for consulting services and reimbursement of direct expenses. Mr. Kresel's payments for consulting services and expense reimbursements were \$217,000 and \$216,000 during 2011 and 2012, respectively.

Otsuka, our collaborative partner (see Note 5) and sole source of revenue for the years ended December 31, 2011 and 2012, owns 8.31% of our outstanding stock, while Otsuka Pharmaceutical Factory, Inc. owns 6.67% of our outstanding stock. Together, these two entities own 14.98% of our outstanding stock. These entities do not have representation on the Board.

SBI Holdings, Inc. (a related party), one of our shareholders, is the holder for our contingently convertible debt (see Note 9).

**Note 16. Subsequent Events*****Emixustat Milestone***

In February 2013, we achieved the development milestone related to emixustat for the initiation of a Phase 2b/3 clinical trial in the United States. As a result of achieving this milestone, a \$5,000,000 payment is due from Otsuka, which we recognized as revenue at the time the milestone was met in 2013.

***CEO Equity Agreement***

In January and May 2013, the board of directors granted an award of shares of restricted stock to Dr. Ryo Kubota pursuant to his employment agreement and consistent with prior practices. We recorded approximately \$786,000 in compensation expense in connection with the award in 2013.

***Rebamipide Agreement***

In September 2013, Otsuka elected to end its rebamipide co-development agreement with us. As a result, we recognized as revenue, in the quarter ended September 30, 2013, a \$2,000,000 upfront payment from Otsuka that had been deferred due to refund provisions. These refund provisions expired with the end of the co-development agreement.

***Strategic Restructuring***

On October 18, 2013, we announced a plan to reduce expenses, including a workforce reduction, as a result of the termination of the Rebamipide Agreement. The plan will result in a reduction in force of approximately 35% of our total workforce, or approximately 30 employees. The employees affected by the reduction in force were notified the week of October 21, 2013.

As a result of this workforce reduction, we anticipate recording a charge related to severance, other termination benefits, and outplacement services, in the three months ending December 31, 2013.



**ACUCELA INC.**  
**CONDENSED BALANCE SHEETS**  
(in thousands)

	December 31, 2012	September 30, 2013 (unaudited)	Pro forma Shareholders' Equity at September 30, 2013 (unaudited)
<b>Assets</b>			
<b>Current assets:</b>			
Cash and cash equivalents .....	\$ 16,639	\$ 4,572	
Investments .....	6,927	17,147	
Restricted investments .....	5,009	3,040	
Accounts receivable from collaborations with a related party .....	8,700	13,793	
Deferred tax asset .....	770	770	
Prepaid expenses and other current assets .....	1,521	2,828	
<b>Total current assets .....</b>	<b>39,566</b>	<b>42,150</b>	
Property and equipment, net .....	1,143	1,220	
Restricted long-term investments .....	750	2,725	
Long-term deferred tax asset .....	3,895	1,912	
Deferred offering costs .....	1,199	4,122	
Other assets .....	471	354	
<b>Total assets .....</b>	<b>\$ 47,024</b>	<b>\$ 52,483</b>	
<b>Liabilities and shareholders' equity</b>			
<b>Current liabilities:</b>			
Current maturities of contingently convertible debt, related party .....	\$ 6,500	\$ 12,000	—
Accounts payable .....	735	801	
Accrued liabilities .....	3,109	5,194	
Accrued compensation .....	2,413	2,260	
Deferred revenue from collaborations with a related party .....	570	—	
Deferred rent and lease incentives .....	249	259	
<b>Total current liabilities .....</b>	<b>13,576</b>	<b>20,514</b>	
<b>Commitments</b>			
Long-term deferred rent, lease incentives, and others .....	341	129	
Long-term deferred revenue from collaborations with a related party .....	2,000	—	
Long-term contingently convertible debt, related party .....	5,500	—	—
<b>Total long-term liabilities .....</b>	<b>7,841</b>	<b>129</b>	
<b>Shareholders' equity:</b>			
<b>Convertible preferred stock, no par value, 52,453 shares authorized:</b>			
Series A, no par value, 2,734 shares authorized, issued, and outstanding (liquidation value of \$2,051); no shares issued and outstanding (pro forma) .....	2,051	2,051	—
Series B, no par value, 17,900 shares authorized, issued, and outstanding (liquidation value of \$13,425); no shares issued and outstanding (pro forma) .....	13,387	13,387	—
Series C, no par value, 31,818 shares authorized, 11,807 shares issued and outstanding (liquidation value of \$12,988); no shares issued and outstanding (pro forma) .....	12,771	12,771	—
Common stock, no par value, 60,000 shares authorized; 11,910 and 11,972 shares issued and outstanding as of December 31, 2012 and September 30, 2013 (unaudited), respectively; 26,422 shares issued and outstanding (pro forma) .....	3,192	3,654	43,863
Additional paid-in capital .....	1,965	2,638	2,638
Accumulated other comprehensive loss .....	—	(13)	(13)
Accumulated deficit .....	(7,759)	(2,648)	(2,648)
<b>Total shareholders' equity .....</b>	<b>25,607</b>	<b>31,840</b>	<b>\$ 43,840</b>
<b>Total liabilities and shareholders' equity .....</b>	<b>\$ 47,024</b>	<b>\$ 52,483</b>	

See accompanying notes to condensed financial statements.

**ACUCELA INC.**  
**CONDENSED STATEMENTS OF INCOME**  
(unaudited)  
(in thousands, except per share data)

	<u>Nine Months Ended September 30,</u>	
	<u>2012</u>	<u>2013</u>
Revenues from collaborations with a related party .....	\$ 35,141	\$ 41,695
Expenses:		
Research and development .....	22,695	26,221
General and administrative .....	5,953	7,724
Total expenses .....	<u>28,648</u>	<u>33,945</u>
Income from operations .....	6,493	7,750
Other income (expense), net:		
Interest income .....	24	101
Interest expense .....	(104)	(88)
Other income (expense), net .....	(21)	71
Total other income (expense), net .....	<u>(101)</u>	<u>84</u>
Income before income tax .....	6,392	7,834
Income tax expense .....	2,283	2,723
Net income .....	4,109	5,111
Net income attributable to participating securities .....	3,006	3,735
Net income attributable to common shareholders .....	<u>\$ 1,103</u>	<u>\$ 1,376</u>
Net income per share attributable to common shareholders		
Basic .....	<u>\$ 0.09</u>	<u>\$ 0.12</u>
Diluted .....	<u>\$ 0.09</u>	<u>\$ 0.11</u>
Weighted average shares used to compute net income per share attributable to common shareholders:		
Basic .....	11,900	11,961
Diluted .....	12,147	12,346
Pro forma net income per share attributable to common shareholders		
Basic .....		<u>\$ 0.20</u>
Diluted .....		<u>\$ 0.19</u>
Weighted average shares used to compute pro forma net income per share attributable to common shareholders:		
Basic .....		26,411
Diluted .....		26,796

See accompanying notes to condensed financial statements.

**ACUCELA INC.**  
**CONDENSED STATEMENTS OF COMPREHENSIVE INCOME**  
(unaudited)  
(in thousands)

	<u>Nine Months Ended September 30,</u>	
	<u>2012</u>	<u>2013</u>
Net income .....	\$ 4,109	\$ 5,111
Other comprehensive gain (loss):		
Net unrealized gain (loss) on securities .....	4	(13)
Comprehensive income .....	<u>\$ 4,113</u>	<u>\$ 5,098</u>

See accompanying notes to condensed financial statements.

**ACUCELA INC.**  
**CONDENSED STATEMENTS OF CASH FLOWS**  
(unaudited)  
(in thousands)

	Nine Months Ended September 30,	
	2012	2013
<b>Cash flows from operating activities</b>		
Net income .....	\$ 4,109	\$ 5,111
Adjustments to reconcile net income to net cash provided by operating activities:		
Depreciation and amortization .....	344	395
Loss from the disposal of fixed assets .....	10	—
Amortization of deferred financing costs .....	8	—
Stock-based compensation .....	373	1,006
Deferred taxes .....	2,110	1,983
Amortization of premium/discount on marketable securities .....	59	233
Changes in operating assets and liabilities:		
Accounts receivable from collaborations with a related party .....	1,046	(5,093)
Prepaid expenses and other current assets .....	(1,254)	(1,307)
Accounts payable .....	(1,618)	(22)
Accrued liabilities .....	1,268	1,516
Accrued compensation .....	228	(153)
Deferred rent and lease incentives .....	(33)	(198)
Deferred revenue from collaborations with a related party .....	3,220	(2,570)
Other assets .....	114	117
Net cash provided by operating activities .....	<u>9,984</u>	<u>1,018</u>
<b>Cash flows from investing activities</b>		
Purchases of marketable securities available for sale .....	(10,890)	(20,506)
Maturities of marketable securities available for sale .....	5,508	10,066
Additions to property and equipment .....	(186)	(472)
Net cash used in investing activities .....	<u>(5,568)</u>	<u>(10,912)</u>
<b>Cash flows from financing activities</b>		
Proceeds from issuance of common stock .....	3	6
Restricted investments income .....	—	(32)
Payments for deferred offering costs .....	(412)	(2,270)
Excess tax benefit from stock-based compensation .....	—	123
Net cash used in financing activities .....	<u>(409)</u>	<u>(2,173)</u>
Increase (decrease) in cash and cash equivalents .....	4,007	(12,067)
Cash and cash equivalents—beginning of period .....	9,760	16,639
Cash and cash equivalents—end of period .....	<u>13,767</u>	<u>4,572</u>
<b>Supplemental disclosure of non-cash activities</b>		
Unpaid deferred offering costs .....	<u>\$ —</u>	<u>\$ 653</u>

See accompanying notes to condensed financial statements.



## ACUCELA INC.

## NOTES TO CONDENSED FINANCIAL STATEMENTS (UNAUDITED)

**Note 1. Significant Accounting Policies*****Basis of Presentation***

The accompanying unaudited financial statements of Acucela Inc. ("the Company" or "Acucela"), have been prepared on a basis consistent with the December 31, 2012 audited financial statements and include all adjustments, consisting of only normal recurring adjustments, necessary to fairly present the information set forth herein, in accordance with GAAP. The condensed interim financial statements have been prepared in accordance with the regulations of the Securities and Exchange Commission, or the SEC, and omit certain information and footnote disclosure necessary to present the statements in accordance with GAAP. These financial statements should be read in conjunction with the audited financial statements and notes thereto included in our Registration Statement on Form S-1 for the year ended December 31, 2012. The results of operations for the nine months ended September 30, 2013 are not necessarily indicative of the results to be expected for the entire fiscal year or any future period.

***Use of Estimates***

The preparation of financial statements in conformity with GAAP requires management to make estimates and assumptions that affect the amounts reported in the condensed financial statements and accompanying notes. Actual results could differ from these estimates.

***Unaudited Pro Forma Shareholders' Equity and Earnings per Share***

Upon the effective date of our initial public offering of stock, all of the outstanding contingently convertible debt and preferred stock, assuming we raise at least \$25,000,000 at a price of at least \$3.50 per share, will automatically convert into shares of common stock. Unaudited pro forma net income per share attributable to common shareholders for the nine months ended September 30, 2013 has been computed to give effect to the automatic conversion of the contingently convertible debt and preferred stock into 3,636,364 and 10,813,867 shares of common stock, respectively, as though these conversions had occurred as of the beginning of the period presented.

***Subsequent Events***

Management has evaluated events occurring through November 7, 2013 for accounting and disclosure implications.

**Note 2. Net Income Per Share**

We compute net income per share of common stock using the two-class method required for participating securities. We consider all series of our convertible preferred stock to be participating securities as the holders are entitled to participate in common stock dividends with common stock on an as-converted basis. In accordance with the two-class method, earnings allocated to these participating securities, which include participation rights in undistributed earnings with common stock, are subtracted from net income to determine net income attributable to common shareholders.

Basic net income per share is calculated by dividing net income attributable to common shareholders by the weighted average number of shares outstanding for the period. Diluted net income per share is calculated by dividing net income attributable to common shareholders by the weighted average number of shares of the common stock outstanding and other dilutive securities outstanding during the period. The potential dilutive shares of our common stock include the exercise of outstanding stock options that are dilutive. Dilutive securities in our diluted EPS calculation do not include our contingently convertible debt, which are convertible upon the

occurrence of a qualified initial public offering of at least \$25,000,000 and \$3.50 per share, as defined in the contingently convertible debt agreement. As of September 30, 2013, such an event has not occurred and accordingly the holders of the contingently convertible debt have no rights to our undistributed earnings. Upon such an event, the contingently convertible debt will be convertible into 3,636,364 common shares, after an intermediate conversion into Series C preferred shares.

The following table reconciles the numerator and denominator used to calculate diluted net income per share for the periods presented (in thousands):

	Nine Months Ended September 30,	
	2012	2013
Numerator:		
Net income attributable to common shareholders	\$ 1,103	\$ 1,376
Denominator:		
Weighted average common shares outstanding—basic	11,900	11,961
Dilutive effect of stock options	248	385
Weighted average shares outstanding—diluted	12,147	12,346

For the nine months ended September 30, 2012 and 2013, there were no antidilutive options to purchase shares of common stock outstanding.

Unaudited pro forma net income per share attributable to common shareholders for the nine months ended September 30, 2013 has been computed to give effect to the automatic conversion of the contingently convertible debt and preferred stock into common stock as though these conversions had occurred at the beginning of the fiscal period. The following table sets forth the computation of our unaudited pro forma basic and diluted net income per share during the nine months ended September 30, 2013 (in thousands, except for share amounts):

	Nine Months Ended September 30, 2013	
Numerator:		
Net income	\$	5,111
Interest expense on contingently convertible debt, net of tax		55
Pro forma net income	\$	5,166
Denominator:		
Weighted average shares outstanding—basic		11,961
Contingently convertible debt—pro forma conversion		3,636
Preferred stock—pro forma conversion		10,814
Pro forma weighted average shares outstanding—basic		26,411
Dilutive effect of stock options		385
Pro forma weighted average shares outstanding—diluted		26,796

### Note 3. Concentration of Risk

All of our significant assets are located in the United States, and we did not have any revenue generated outside of the United States for the nine months ended September 30, 2012 and 2013. During the nine month periods ended September 30, 2012 and 2013 and as of December 31, 2012 and September 30, 2013, all of our revenues and accounts receivable were derived from the collaboration agreements with Otsuka.

**Note 4. Investments and cash and cash equivalents**

Investments are carried at fair value. Cash equivalents are carried at cost, which approximates fair value. Our investments are classified as available-for-sale securities, with unrealized gains and losses recorded in accumulated other comprehensive income or loss until realized. Short-term investments have a remaining maturity of less than one year from the reporting date. Our long-term investments are investments with remaining maturities exceeding 12 months from the reporting date. Premiums and discounts on investments are amortized into interest income over the contractual term of the security.

Cash, cash equivalents and investments as of December 31, 2012 and September 30, 2013, consisted of the following (in thousands):

	December 31, 2012			
	Amortized Cost	Gross Unrealized Holding Gains	Gross Unrealized Holding Losses	Fair Value
Types of security:				
Commercial paper . . . .	\$ 798	\$ 1	\$ —	\$ 799
Corporate debt securities . . . . .	5,968	—	(2)	5,966
Municipal bonds . . . . .	1,225	—	—	1,225
Certificates of deposit . . . . .	6,500	1	—	6,501
Money market funds . . . . .	14,306	—	—	14,306
Cash . . . . .	528	—	—	528
	<u>\$ 29,325</u>	<u>\$ 2</u>	<u>\$ (2)</u>	<u>\$ 29,325</u>
	September 30, 2013			
	Amortized Cost	Gross Unrealized Holding Gains	Gross Unrealized Holding Losses	Fair Value
Types of security:				
Commercial paper . . . .	\$ 1,023	\$ 2	\$ —	\$ 1,025
Corporate debt securities . . . . .	15,600	—	(5)	15,595
Municipal bonds . . . . .	1,639	—	(1)	1,638
Certificates of deposit . . . . .	4,985	2	(11)	4,976
Money market fund . . .	3,360	—	—	3,360
Cash . . . . .	890	—	—	890
	<u>\$ 27,497</u>	<u>\$ 4</u>	<u>\$ (17)</u>	<u>\$ 27,484</u>

There were no realized gains or losses for the periods presented.

Market values were determined for each individual security in the investment portfolio. The declines in value of these investments are primarily related to changes in interest rates and are considered to be temporary in nature. We evaluate, among other things, the duration and extent to which the fair value of a security is less than its cost, the financial condition of the issuer, and our intent to sell, or whether it is more likely than not we will be required to sell, the security before recovery of the amortized cost basis. We do not consider these investments to be other-than-temporarily impaired as of September 30, 2013.

**Note 5. Fair Value Measurements**

We measure and report our cash equivalents at carrying value, which approximates fair value, and investment securities (financial assets) at fair value. Fair value is defined as the exchange price that would be received for an asset

or paid to transfer a liability, an exit price, in the principal or most advantageous market for the asset or liability in an orderly transaction between market participants on the measurement date. Valuation techniques used to measure fair value maximize the use of observable inputs and minimize the use of unobservable inputs.

Financial assets are classified and disclosed in one of the following three categories:

Level 1—Quoted prices in active markets for identical assets and liabilities.

Level 2—Inputs other than Level 1 that are observable, either directly or indirectly, such as quoted prices for similar assets or liabilities; quoted prices in markets that are not active; or other inputs that are observable or can be corroborated by observable market data for substantially the full term of the assets or liabilities, and

Level 3—Unobservable inputs in which there is little or no market data available, which requires us to develop our own assumptions.

Our financial assets measured at fair value on a recurring basis as of December 31, 2012 and September 30, 2013 were as follows (in thousands):

	December 31, 2012			
	Level 1	Level 2	Level 3	Total
Cash equivalents:				
Money market funds .....	\$14,306	\$ —	\$ —	\$14,306
Municipal bonds .....	—	1,225	—	1,225
Corporate debt securities .....	—	586	—	586
Cash .....	528	—	—	528
	<u>\$14,834</u>	<u>\$ 1,811</u>	<u>\$ —</u>	<u>\$16,645</u>
Investments:				
Commercial paper .....	\$ —	\$ 798	\$ —	\$ 798
Corporate debt securities .....	—	5,381	—	5,381
Certificates of deposit .....	—	6,501	—	6,501
	<u>\$ —</u>	<u>\$12,680</u>	<u>\$ —</u>	<u>\$12,680</u>
	September 30, 2013			
	Level 1	Level 2	Level 3	Total
Cash equivalents:				
Money market funds .....	\$ 3,360	\$ —	\$ —	\$ 3,360
Municipal bonds .....	—	625	—	625
Cash .....	890	—	—	890
	<u>\$ 4,250</u>	<u>\$ 625</u>	<u>\$ —</u>	<u>\$ 4,875</u>
Investments:				
Commercial paper .....	\$ —	\$ 1,025	\$ —	\$ 1,025
Corporate debt securities .....	—	15,595	—	15,595
Municipal bonds .....	—	1,013	—	1,013
Certificates of deposit .....	—	4,976	—	4,976
	<u>\$ —</u>	<u>\$22,609</u>	<u>\$ —</u>	<u>\$22,609</u>

Our level 2 financial assets include government-backed securities, municipal bonds, commercial paper, corporate debt securities, and certificates of deposits. These level 2 financial assets are valued using pricing models that consider the most relevant observable inputs available for similar securities, including such items as reported trades, broker/dealer quotes, bids, offers, and yields.



We had \$12,000,000 of contingently convertible debt with a related party outstanding as of December 31, 2012 and September 30, 2013. At December 31, 2012 and September 30, 2013, the estimated fair value of the contingently convertible debt was \$47,000,000 and \$103,000,000, respectively. Our valuation analysis was prepared using a two-step process that initially estimated the fair value of the entire company, using a discounted cash flow model, and next allocated this value to the various debt and equity securities we have issued. Value was allocated to the contingently convertible debt as the result of the preferences and conversion features of the notes under our valuation model of the Company, which is based on the Black-Scholes option pricing model. This model considers overall value of the entity, liquidation preferences, risk free rates, volatility rates of peer companies, and time to a conversion event. Our valuation of the contingently convertible debt is considered to be Level 3.

## **Note 6. Equity Transactions**

### ***Common Stock:***

During the first nine months of 2012, options to purchase 288 shares of common stock were exercised in exchange for cash, 196 shares were issued pursuant to an employment agreement and options to purchase 163,900 shares of common stock were granted as compensation.

During the first nine months of 2013, options to purchase 30,219 shares of common stock were exercised in exchange for cash, 31,452 shares were issued pursuant to an employment agreement, and options to purchase 110,250 shares of common stock were granted as compensation.

### ***CEO Equity Agreement:***

We have an employment agreement with Dr. Ryo Kubota. Until the initial public offering of our common stock, we are obligated pursuant to the employment agreement to grant stock options or allow Dr. Kubota to purchase restricted shares of common stock as often as necessary to maintain Dr. Kubota's equity position in our company equal to at least 51% of our issued and outstanding voting common stock on an as-converted basis. The shares under these awards are subject to repurchase provisions that lapse quarterly over 36 months from the date of grant. Outstanding options and convertible securities are not included in the calculation of Dr. Kubota's equity position unless the options are exercised or the convertible securities are converted into our capital stock. The purchase price of each stock grant may be made by an interest-bearing full recourse promissory note. Per the terms of the employment agreement, we are obligated to periodically pay Dr. Kubota cash bonuses consisting of principal and interest amounts due under such promissory notes and additional taxes incurred by Dr. Kubota as a result of receiving such bonuses, if any.

We treat this arrangement as share-based compensation. The employment agreement provides equity awards to Dr. Kubota subject to service and performance conditions. The grant and measurement date is the date at which the Board approves the grant of the options or sale of the restricted stock to Dr. Kubota. The fair value of the award is established as the current fair value of our common stock. Compensation expense related to this arrangement is included in general and administrative expense.

During the nine months ended September 30, 2013, in connection with stock option exercises, we entered into restricted stock purchase agreements with Dr. Kubota for the issuance of 31,452 shares of our common stock. In January 2013, 20,816 shares were issued at \$10.33 per share and in May 2013, 10,636 shares were issued at \$22.69 per share, in exchange for three-year promissory notes in the total amount of \$456,000. Concurrent with the execution of the agreements, we paid bonuses to Dr. Kubota, which were in turn used to repay the promissory notes and as compensation for taxes associated with the awards. We recorded approximately \$786,000 in compensation expense in connection with the awards.

*Changes in Accumulated Other Comprehensive Loss (in thousands):*

	<u>Nine Months Ended September 30, 2012</u>	<u>Nine Months Ended September 30, 2013</u>
	Unrealized holding loss on available-for-sale securities	Unrealized holding loss on available-for-sale securities
Beginning balance .....	\$ (6)	\$ —
Current period other comprehensive gain (loss) . . .	4	(13)
Ending balance .....	<u>\$ (2)</u>	<u>\$ (13)</u>

**Note 7. Contingently Convertible Debt with Related Party**

On June 30, 2013, the Company renegotiated the terms of the contingently convertible debt due on June 30, 2013. The maturity date was extended one year to June 30, 2014 and the interest rate was decreased to 0.84% per annum.

On August 31, 2013, the Company renegotiated the terms of the contingently convertible debt due on August 31, 2013. The maturity date was extended one year to August 31, 2014 and the interest rate was decreased to 0.84% per annum.

**Note 8. Income Taxes**

The Company had no uncertain tax positions as of December 31, 2012 and September 30, 2013.

**Note 9. Collaborative Arrangements with Related Party**

In the first nine months of 2013, we received from Otsuka and recognized in revenue a \$5.0 million milestone payment for the initiation of the Phase 2b/3 clinical trial in the United States for emixustat. Additionally, we received an \$8.1 million payment related to Otsuka's funding of our share of emixustat development, as of September 30, 2013.

**Rebamipide Agreement**

In September 2013, Otsuka elected to end its rebamipide co-development agreement with us. As a result, we recognized as revenue, in the quarter ended September 30, 2013, a \$2,000,000 upfront payment from Otsuka that had been deferred due to refund provisions. These refund provisions expired with the end of the co-development agreement.

**Note 10. Subsequent Events****Strategic Restructuring**

On October 18, 2013, we announced a plan to reduce expenses, including a workforce reduction, as a result of the termination of the Rebamipide Agreement. The plan will result in a reduction in force of approximately 35% of our total workforce, or approximately 30 employees. The employees affected by the reduction in force were notified the week of October 21, 2013.

As a result of this workforce reduction, we anticipate recording a charge of \$1.0 million related to severance, other termination benefits, and outplacement services, in the three months ending December 31, 2013.

**Termination of Line of Credit**

In December 2013, we decided to terminate our Line of Credit. As a result, the \$5.8 million of investments are no longer restricted.

## 2【主な資産・負債及び収支の内容】

「1. 財務書類」に記載した財務書類の注記をご参照ください。

## 3【その他】

## (イ) 後発事象

「第6 経理の状況 - 1. 財務書類」に記載した財務書類の注記をご参照ください。

上記の他、当社が認識している後発事象はありません。

## (ロ) 訴訟等

当社は、通常の業務過程において法的手続および要求の対象となる場合があります。現在、当社は重要な法的手続の当事者とはなっており、当社の知る限りそのおそれはありません。

## 4【米国と日本における会計原則及び会計慣行の主要な相違】

本書中のAcucela Inc.の財務書類は、米国において一般に公正妥当と認められる会計原則（以下「米国会計基準」といいます。）に準拠しています。かかる原則は、日本において一般に認められる会計原則（以下「日本会計基準」といいます。）と異なっています。日本会計基準と米国会計基準との主要な相違についての要約は下記の通りであります。これらの相違点のみとはならず、その他の相違点が存在する場合があります。

米国会計基準	日本会計基準
<p><b>収益の認識</b></p> <p>米国においては、米国証券取引委員会（以下「SEC」といいます。）により公表され、改訂された権威ある会計指針（収益の認識に関するSECスタッフの見解を要約したもの）に従って、収益は、（1）取決めについての説得力のある証拠が存在する、（2）製品等の引渡し、あるいはサービスの提供がなされている、（3）買主に対する売手の価格が固定または決定可能、（4）代金の回収可能性が合理的に保証されている、といった要件すべてが満たされた場合に認識されます。また、複数の物品・サービス等が提供される取引契約については、収益認識についての権威ある会計指針が追加されており、かかる改訂は2010年11月1日より将来に向かって適用されました。</p> <p>米国においては、2009年10月、財務会計基準審議会（以下「FASB」といいます。）は複数要素の取引についての収益認識の指針を改訂しました。当該指針は、収益の認識についての残価法を廃止し、売手特有の客観的証拠（VSOE）または第三者による証拠（TPE）が入手不可能な場合には、取引の個々の要素の販売価格について経営陣の最善の見積りを用いることを要求しています。</p> <p>さらに、2010年4月、FASBはマイルストーンの定義および研究開発取引についてマイルストーン方式による収益認識の適用の適切な時期の決定に関する指針を公表しました。当社は、2009年12月31日付で当該指針を早期適用しました。</p>	<p>日本においては、米国会計基準と同様の詳細な規定はありませんが、収益認識基準の権威ある会計指針として、実現主義の原則があります。</p>

米国会計基準	日本会計基準
<p><b>市場性のある有価証券</b></p> <p>各報告期間において、有価証券および投資の価値の下落が一時的であるかどうかについて下落の期間や程度、発行体の財政状態や業績の見通し、および公正価値の回復が予想される十分な期間にわたって保有する意思等をもとに判断し、一時的でないとは判断された場合には、帳簿価額と公正価値の差を減損として損益計算書類において認識します。</p>	<p>市場価格または合理的に計算可能な価値が存在する有価証券に関し、著しい下落後の公正価値は、当該公正価値が回復する見込みがない場合、新たな帳簿価額として使用すべきです。当該評価の差額は、当会計期間において損失として処理されます。</p>
<p><b>有給休暇</b></p> <p>米国会計基準編纂書 (以下「ASC」といいます。) 710-10-25に基づき、一定の基準が満たされた場合、将来の休暇に対する債務を計上します。</p>	<p>日本会計基準の下では、有給休暇引当金の計上は要求されていません。</p>
<p><b>株式報酬</b></p> <p>米国では、ストック・オプション等の株式を基礎とした報酬は、ASC718「報酬 - 株式報酬」のガイダンスに基づいて会計処理されます。すべての株式報酬取引に係るコストの財務書類における認識を要求する当該ガイダンスは、公正価値を測定対象として決定し、株式報酬取引の会計処理に当たり公正価値に基づく測定方法を適用することを事業体に要求しています。</p> <p>持分として分類される株式報酬は払込剰余金への調整として会計処理され、貸借対照表上では別掲表示されません。</p>	<p>日本では、企業会計基準第8号「ストック・オプション等に関する会計基準」に基づき、2006年5月1日以後に付与されたストック・オプションについては、ストック・オプションの付与日から権利確定日までの期間にわたり、付与日現在のストック・オプションの公正な評価額に基づいて報酬費用が認識され、対応する金額は「純資産の部」に独立の項目として計上されます。2006年5月1日より前に付与されたストック・オプションについては特定の会計基準がなく、一般に、報酬コストは認識されていません。また、ストック・オプションが失効した場合に、新株予約権戻入益が計上されます。</p>
<p><b>研究開発</b></p> <p>米国においては、ASC730 (旧緊急発生問題検討委員会(EITF)第07-3号「将来の研究開発活動に係る払戻不能の商品購入代金およびサービス対価の前渡金に関する会計処理」)により、将来の研究開発活動のために利用または提供される商品またはサービスに対して支払った払戻不能の前渡金を繰延べ、回収可能性の評価を前提に、当該商品の利用期間または関連サービスの提供期間にわたって償却します。</p>	<p>日本においては、米国会計基準のような会計処理は求められていません。</p>



米国会計基準	日本会計基準
<p><b>公正価値</b></p> <p>米国では、ASC820「公正価値測定および開示」により、公正価値が定義され、公正価値測定のフレームワークが設定され、また、公正価値測定に関する開示が拡大されています。同ガイダンスでは、公正価値の定義について交換の対価という概念を引き続き用いるものの、当該対価が測定日時時点で資産を売却あるいは負債を移転する場合に市場参加者間の通常の取引で交換される価格であることを明確にしています。ASC820は、公正価値が市場を基準とする価値であり、企業特有の価値ではないことを強調しています。また、測定のためのフレームワークとして公正価値を階層化するとともに、公正価値で測定した資産・負債についての開示の拡大を要求しています。</p>	<p>日本では、公正価値測定に関する包括的な会計基準はありません。公正価値は、金融商品および非金融資産・負債に関する各会計基準において、市場価格に基づく価額、または市場価格がない場合の合理的に算定された価額と定義されています。</p>
<p><b>後発事象の開示</b></p> <p>貸借対照表日後、財務書類が発行されるまたは発行可能となる前に起きた事象または取引が開示の対象範囲です。財務書類は、一般に公正妥当と認められる会計原則に準拠した様式および形式において作成が完了した時点および発行のために必要なすべての承認を得た時点で発行可能とみなされます。</p>	<p>「後発事象に関する監査上の取扱い」において、後発事象とは、財務書類の監査の範囲内で貸借対照表日後、監査報告書日までに発生した事象と定義されています。後発事象の定義、範囲および取扱いが定められているため、会計上の実務的な指針として使用されています。また、監査報告書日後、有価証券報告書提出日までに発生した事象についての規則も定められています。</p>

## 第7【外国為替相場の推移】

米ドルと円の為替相場は日本国内において時事に関する事項を掲載する2紙以上の日刊新聞紙に最近5年間の事業年度および最近6か月間において掲載されているため省略します。

## 第8【本邦における提出会社の株式事務等の概要】

以下は、当社普通株式に関する株式事務、権利行使の方法および関連事項の概要であります。

### 1【日本における当社普通株式の株式事務】

当社普通株式を取得する者(本1において以下「実質株主」といいます。)と、その取得窓口となった証券会社(以下「窓口証券会社」といいます。)との間の総合証券取引約款または外国証券取引口座約款(以下「証券取引口座約款」といいます。)により、実質株主の名義で外国証券取引口座(以下「取引口座」といいます。)が開設されます。売買の執行、売買代金の決済、証券の保管およびその他当社普通株式の取引に関する事項はすべてこの取引口座を通じて処理されます。当社普通株式に係る株式事務は、株式会社証券保管振替機構(以下「保管振替機構」といいます。)が定める外国株券等の保管および振替決済に関する規則に基づき委任を受けた三菱UFJ信託銀行株式会社(以下「株式事務取扱機関」といいます。)が行います。

以下は、外国証券取引口座約款に従った、当社普通株式に関する事務手続の概要であります。

#### (1) 証券の保管

東京証券取引所に上場された当社普通株式は、外国株券等保管振替決済制度(以下「保管振替制度」といいます。)にしたがい保管振替機構名義で窓口証券会社のためにアメリカ合衆国の預託信託会社に預託され保管されます。東京証券取引所に上場された当社普通株式は、保管振替機構もしくはその代理人名義で当社の株主名簿に登録されます。

#### (2) 当社普通株式の譲渡に関する手続

実質株主は、窓口証券会社の発行した預り証を提示したうえで、その持株の保管替えまたは売却注文をなすことができます。当社普通株式の東京証券取引所における取引の決済については、東京証券取引所の参加者である窓口証券会社が保管振替機構に開設した口座間での振替が行われ、窓口証券会社を通じて各顧客の外国証券取引口座への振替が行われます。

#### (3) 実質株主に対する諸通知

実質株主の権利または利益に関して当社が行う諸通知は、株式事務取扱機関が、実質株主の届出た住所宛てに送付されます。

#### (4) 実質株主の議決権の行使に関する手続

株主総会の招集通知は上記(3)にしたがって株式事務取扱機関から各実質株主に送付されます。議決権の行使は、原則として株式事務取扱機関に対して実質株主が行う指示に基づき、保管振替機構を通じて米国の預託信託会社が行います。保管振替機構が指定する所定の日時まで所定の様式によって実質株主が指示をしない場合、保管振替機構および米国の預託信託会社は議決権を行使しません。

#### (5) 現金配当の交付手続

当社普通株式に係る配当金は、当社よりも米国の預託信託会社に支払われ、米国の預託信託会社から当社が指定し保管振替機構が委任した配当金支払取扱銀行が一括受領し、株式事務取扱機関が作成した実質株主明細表に基づき原則として銀行送金にて各実質株主に支払われます。

#### (6) 株式配当等の交付手続

株式配当、株式分割、無償交付等により割り当てられた株式は、保管振替機構を通じて各窓口証券会社に各実質株主が保有する外国証券取引口座に記帳されます。1株未満の株式は原則として売却処分され、その代金を株式事務取扱機関が各実質株主に支払います。上記に関して費用が発生した場合は実質株主の負担となります。

#### (7) 新株予約権

当社普通株式について新株予約権等が付与された場合は、実質株主が所定の日時まで窓口証券会社に新株の引受を希望する旨を通知し、払込代金を支払ったときは、保管振替機構が実質株主に代わり新株予約権を行使し新株を引き受け、実質株主の口座に記帳します。

## 2 【日本における実質株主の権利行使方法】

### (1) 名義書換代理人および名義書換取扱場所

日本には当社普通株式に関する当社の名義書換代理人または名義書換取扱場所はありません。各窓口証券会社は自社に取引口座を有する全実質株主の明細表(以下「実質株主明細表」といいます。)を作成します。実質株主明細表には各実質株主の名称および各実質株主のために所有する株式数が記載されます。

### (2) 実質株主明細表の基準日

当社は議決権の行使、配当の支払いまたは新株引受権の付与のため基準日を定めることができます。かかる議決権について代理行使指図を行う実質株主および配当または新株引受権を受領する資格を有する実質株主を決定するための実質株主明細表の基準日は、通常当該基準日と同一の暦日となります。

### (3) 事業年度の終了

当社の事業年度は毎年12月31日に終了します。

### (4) 公告

当社普通株式に関して、東京証券取引所の規則またはその他の法令に定める場合の他日本において公告を行いません。

### (5) 株式事務に関する手数料

実質株主は、取引口座を開設するときに窓口証券会社の定めるところにより取引口座管理料および現金支払経費(もしあれば)を支払います。

### (6) 株券の発行

当社普通株式に関して株券は発行しません。

### (7) 本邦における課税

#### (a) 配当

実質株主に対して支払われる配当金は、個人については配当所得となり、法人については益金となります。上場株式等の配当金に対し、以下の税率が適用されます(ただし、一定の大口個人株主が支払いを受ける上場株式等の配当金については、20.42%の源泉徴収所得税が適用されます。 )。

	税率	
	日本の法人	日本の個人
2013年1月1日から2013年12月31日まで	7.147%	7.147% (他に地方税3%)
2014年1月1日から2037年12月31日まで	15.315%	15.315% (他に地方税5%)
2038年1月1日以降	15%	15% (他に地方税5%)

日本の居住者たる個人(一定の大口株主を除きます。)が受け取る上場株式等の配当金については、配当金額の多寡に関係なく、確定申告を要しない制度(以下「申告不要制度」といいます。)の適用により、総合課税の対象となる所得から配当金を分離することを選択できることとなっています。なお、申告不要制度を選択した場合には、かかる個人が当該配当金についてアメリカ合衆国で課され、源泉徴収された所得税について外国税額控除を請求することはできません。また、日本における配当の支払取扱者において源泉徴収される金額は、申告不要制度の選択の有無に関わらず、アメリカ合衆国において徴収された所得税を控除した後の金額に対し、上記記載の税率を適用して計算されます。

日本の居住者たる個人(一定の大口株主を除きます。)が受け取る上場株式等の配当金については、当該個人が申告不要制度を選択しなかった場合、申告分離課税か総合課税を選択できます。ただし、かかる選択は、同一年度に受け取った上場株式等の配当等の全額について行う必要があります。さらに、当該個人が総合課税を選択した場合、上場株式等の配当所得は上場株式等の売却損失による税額控除ができません。

## (b) 株式の売却損益

当社普通株式の売却による損益は、内国法人の上場株式等の売却損益と同様の取扱いを受けます。

源泉徴収の対象となることを選択し特定口座において保有される場合を除き、上場株式等の売却益については、日本の個人納税者は確定申告に基づきその他の所得とは分離して課税され、その税率はかかる株式が証券会社等を通じて売却される限り以下の通りとなります。

	税率
2013年1月1日から2013年12月31日まで	7.147% (他に地方税3%)
2014年1月1日から2037年12月31日まで	15.315% (他に地方税5%)
2038年1月1日以降	15% (他に地方税5%)

当社普通株式を、証券会社に開設した特定口座を通して源泉徴収の適用があることを選択した上で売却した場合には、所得税は上記の税率で売却時に源泉徴収され、原則として、確定申告を要しません(「申告不要制度」)。

## (c) 日本の居住者たる個人に対する税額控除

2014年1月から2023年12月まで、非課税特別口座(すなわち日本の個人貯蓄口座)で管理される上場株式等に関する少額投資(最高5百万円)による配当金および売却益は、一定の要件を満たす場合、日本において非課税となります。

## (d) 相続税

日本国の居住者が相続した当社普通株式は日本国の相続税の対象となります。

日本国の居住者が相続した当社普通株式が同時にアメリカ合衆国の相続税の対象となることがありますが、アメリカ合衆国で徴収された当該相続税については、日本国の相続税法の下で外国税額控除が受けられます。

米国の税制については、「第1 本国における法制等の概要 - 3 . 課税上の取扱い」をご参照ください。

## 第9【提出会社の参考情報】

### 1【提出会社の親会社等の情報】

該当事項はありません。

### 2【その他の参考情報】

該当事項はありません。

### 第三部【提出会社の保証会社等の情報】

#### 第1【保証会社情報】

該当事項はありません。

#### 第2【保証会社以外の会社の情報】

該当事項はありません。

#### 第3【指数等の情報】

該当事項はありません。

## 第四部【特別情報】

## 第1【最近の財務書類】

## 貸借対照表

(未監査)

(単位：株式数を除き、千米ドル、千円)

12月31日現在

	2010年		2009年		2008年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>資産</b>						
流動資産：						
現金および現金同等物	13,997	1,433,852	12,059	1,235,323	8,213	841,339
短期投資	5,594	573,049	3,058	313,261	-	-
未収金	7,097	727,016	6,841	700,792	6,549	670,879
繰延税金資産	494	50,605	-	-	-	-
前払費用およびその他の流動資産	994	101,825	181	18,541	42	4,302
流動資産合計	28,176	2,886,349	22,139	2,267,919	14,804	1,516,521
有形固定資産 (純額)	1,983	203,138	1,273	130,406	1,363	139,625
繰延金融費用 (純額)	22	2,253	39	3,995	70	7,170
長期繰延税金資産	3,972	406,891	-	-	-	-
保証金	656	67,200	187	19,156	187	19,156
資産合計	34,809	3,565,833	23,638	2,421,476	16,424	1,682,474
<b>負債および株主資本</b>						
流動負債：						
関連当事者に対する一年以内満期の支払手形	6,500	665,860	6,500	665,860	3,334	341,534
買掛金	1,627	166,669	3,076	315,105	481	49,273
未払債務	3,062	313,671	311	31,858	226	23,151
未払報酬	358	36,673	768	78,673	134	13,726
キャピタル・リース債務	-	-	-	-	69	7,068
短期繰延収益	557	57,059	715	73,244	-	-
短期繰延賃借料およびリース・インセンティブ	365	37,390	161	16,492	-	-
流動負債合計	12,469	1,277,324	11,531	1,181,235	4,244	434,755
長期繰延賃借料およびリース・インセンティブ	486	49,785	201	20,590	501	51,322
長期繰延収益	2,000	204,880	2,000	204,880	6,679	684,196
関連当事者に対する長期支払手形	5,500	563,420	5,500	563,420	8,750	896,350
関連当事者に対する長期未払利息	253	25,917	197	20,180	227	23,253
長期負債合計	8,239	844,003	7,898	809,071	16,157	1,655,123

コミットメント (注記 9)



	12月31日現在					
	2010年		2009年		2008年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
株主資本：						
転換優先株式 (無額面) 授權株式数						
52,452,514株：						
シリーズA株式 (無額面)						
授權および発行済株式数						
2,734,334株						
(償還価額：2,051千米ドル)	2,051	210,104	2,051	210,104	2,051	210,104
シリーズB株式 (無額面)						
授權および発行済株式数						
17,899,998株						
(償還価額：13,425千米ドル)	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364
シリーズC株式 (無額面)						
授權株式数31,818,182株						
発行済株式数11,807,272株						
(償還価額12,988千米ドル)	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261
普通株式 (無額面)						
授權株式数 60,000,000株						
発行済株式数						
2010年12月31日現在 11,893,987株						
2009年12月31日現在 11,707,987株	3,110	318,588	2,515	257,636	1,364	139,728
資本剰余金	1,019	104,386	690	70,683	448	45,893
その他の包括利益 (損失) 累計額	(34)	(3,482)	1	102	-	-
累積欠損	(18,203)	(1,864,715)	(27,206)	(2,786,982)	(33,998)	(3,482,755)
株主資本合計	14,101	1,444,506	4,209	431,169	(3,977)	(407,403)
負債および株主資本合計	34,809	3,565,833	23,638	2,421,476	16,424	1,682,474

添付の注記を参照のこと。

**損益計算書**  
**(未監査)**

(千米ドル、千円)

	12月31日終了年度					
	2010年		2009年		2008年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
収益	36,457	3,734,655	27,019	2,767,826	6,913	708,167
費用：						
研究開発費	25,297	2,591,424	18,274	1,871,988	10,266	1,051,649
一般管理費	6,632	679,382	6,395	655,103	3,819	391,218
費用合計	31,929	3,270,806	24,669	2,527,092	14,085	1,442,867
営業利益	4,528	463,848	2,350	240,734	(7,172)	(734,699)
その他の収益 (費用) (純額)：						
受取利息	67	6,863	15	1,536	250	25,610
支払利息	(122)	(12,497)	(183)	(18,746)	(170)	(17,414)
その他の収益 (費用) (純額)	64	6,556	(84)	(8,604)	90	9,219
その他の収益 (費用) 合計 (純額)	9	921	(252)	(25,814)	170	17,414
税引前当期純利益	4,537	464,770	2,098	214,919	(7,002)	(717,284)
法人税ベネフィット	4,466	457,497	15	1,536	-	-
当期純利益	9,003	922,267	2,113	216,455	(7,002)	(717,284)

添付の注記を参照のこと。

[次へ](#)

## 株主資本等変動計算書

(未監査)

2010年および2009年12月31日終了年度

(単位：千米ドル(下段は千円)、株式数を除く。)

	転換優先株式						普通株式		資本剰余金	その他の包括利益(損失)累計額	累積欠損	合計
	シリーズA		シリーズB		シリーズC		株式数	金額				
	株式数	金額	株式数	金額	株式数	金額	株式数	金額				
2008年12月31日現在残高	2,734,334	2,051,117,899,998	13,387,111,807,272	12,771,110,984,147	1,364	448	-	-	-	(33,998)	(3,977)	
会計基準アップデート2009-13の採用による影響	-	(210,104)	(1,371,364)	(1,308,261)	(139,728)	(45,893)	-	-	-	(3,482,755)	(407,403)	
株式報酬	-	-	-	-	-	-	-	-	-	4,679	4,679	
ストックオプションの行使に関連して発行された普通株式	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(479,316)	(479,316)	
2007年5月4日付制限付株式取得契約に関連して発行された普通株式	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	141,300	64	-	-	212	212
2009年8月27日付制限付株式取得契約に関連して発行された普通株式	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	446,440	647	30	(-)	(-)	(21,717)
包括利益：当期純利益	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(66,278)	(3,073)	(-)	(-)	(-)	64
売却可能市場性有価証券未実現利益	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	136,100	440	-	(-)	(-)	(6,556)
包括利益合計	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(45,073)	(-)	(-)	(-)	(-)	677
2009年12月31日現在残高	2,734,334	2,051,117,899,998	13,387,111,807,272	12,771,111,707,987	2,515	690	1	(27,206)	1	(2,113)	2,113	
株式報酬	-	(210,104)	(1,371,364)	(1,308,261)	(257,636)	(70,683)	(102)	(2,786,982)	(102)	(216,455)	(216,455)	
ストックオプションの行使に関連して発行された普通株式	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	80,000	45	-	1	1	
2010年5月28日付制限付株式取得契約に関連して発行された普通株式	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	106,000	550	-	(102)	(-)	(102)
包括利益：当期純利益	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(56,342)	(-)	(-)	(-)	(-)	(56,342)
売却可能市場性有価証券未実現損失	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	9,003	9,003	
包括利益合計	-	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(35)	(922,267)	(922,267)	
2010年12月31日現在残高	2,734,334	2,051,117,899,998	13,387,111,807,272	12,771,111,893,987	3,110	1,019	(34)	(18,203)	(34)	(1,864,715)	(1,444,506)	
		(210,104)	(1,371,364)	(1,308,261)	(318,588)	(104,386)	(3,482)	(1,864,715)	(1,444,506)			

添付の注記を参照のこと。

[次へ](#)

## キャッシュフロー計算書

(未監査)

(単位：千米ドル、千円)

	12月31日終了年度					
	2010年		2009年		2008年	
	千米ドル	千円	千米ドル	千円	千米ドル	千円
<b>営業活動によるキャッシュフロー</b>						
当期純利益	9,003	922,267	2,113	216,455	(7,002)	(717,284)
当期純利益から営業活動に使用された 現金(純額)への調整:						
減価償却費	697	71,400	582	59,620	497	50,912
繰延金融費用の償却	17	1,741	31	3,175	36	3,687
有形固定資産除却益(損)	(7)	(717)	84	8,604	(13)	(1,331)
株式報酬	879	90,044	1,329	136,142	1,486	152,225
市場性有価証券のプレミアムまたは ディスカウントの償却	41	4,200	17	1,741	(169)	(17,312)
営業資産および負債の変動:						
未収金	(256)	(26,224)	(292)	(29,912)	(6,424)	(658,074)
前払費用およびその他の流動資産	(813)	(83,283)	(139)	(14,239)	(16)	(1,639)
買掛金	(1,449)	(148,435)	2,595	265,831	72	7,375
未払債務	2,807	287,549	(32)	(3,278)	(496)	(50,810)
繰延税金資産	(4,466)	(457,497)	-	-	-	-
未払報酬	(410)	(42,000)	633	64,844	-	-
繰延賃借料およびリース・インセ ンティブ	489	50,093	(136)	(13,931)	-	-
繰延収益	(158)	(16,185)	715	73,244	6,679	684,196
保証金	(469)	(48,044)	-	-	(91)	(9,322)
営業活動によるキャッシュフロー(純 額)	5,905	604,908	7,500	768,300	(5,441)	(557,376)
<b>投資活動によるキャッシュフロー</b>						
売却可能市場性有価証券の取得	(15,094)	(1,546,229)	(3,824)	(391,730)	(2,520)	(258,148)
売却可能市場性有価証券の満期償還	12,482	1,278,656	750	76,830	13,300	1,362,452
有形固定資産の売却手取金	11	1,126	15	1,536	107	10,961
有形固定資産の取得	(1,411)	(144,542)	(590)	(60,439)	(177)	(18,131)
投資活動によるキャッシュフロー(純 額)	(4,012)	(410,989)	(3,649)	(373,803)	10,710	1,097,132
<b>財務活動によるキャッシュフロー</b>						
普通株式の発行による収入	45	4,609		6,556	1	102
キャピタルリース債務の返済	-	-	(69)	(7,068)	(88)	(9,014)
財務活動によるキャッシュフロー(純 額)	45	4,609	(5)	(512)	(87)	(8,912)
現金および現金同等物の増加	1,938	198,528	3,846	393,984	5,182	530,844
現金および現金同等物 - 期首残高	12,059	1,235,323	8,213	841,339	3,031	310,495
現金および現金同等物 - 期末残高	13,997	1,433,852	12,059	1,235,323	8,213	841,339
<b>補足情報</b>						
支払利息	200	20,488	145	14,853	-	-

添付の注記を参照のこと。

## ACUCELA INC.

## 財務書類に対する注記

## 注記 1 . 事業の概況および重要な会計方針

## 概要

当社は、世界中で数百万人の人々に影響を及ぼしている失明疾患に対する新しい治療法の開発のため、有望な技術である視覚サイクルモジュレーター（以下「VCM」という。）の活用に集中した臨床段階専門の製薬企業である。当社の経口投与VCM化合物は、視力を保護するために網膜内の細胞に選択的に作用するもので、現在患者にとって治療の選択肢がないドライ型加齢黄斑変性（以下「ドライ型AMD」という。）、糖尿病性網膜症、未熟児網膜症およびスターガート病などの複数の重篤な眼疾患の治療に利用される可能性がある。当社は、当社の会長、CEO兼社長である窪田良氏（医学博士、Ph.D.）によって2002年に設立された。同氏は眼科領域における先駆者であり緑内障の原因遺伝子を発見した。

2010年、当社および大塚製薬株式会社（以下「大塚製薬」という。）は、大塚製薬が特定した緑内障治療のための化合物であるOPA-6566について正式に共同開発契約を締結した。OPA-6566は、現在、前臨床開発段階である。

2010年、当社は、ドライ型AMDの治験中の経口治療薬であるエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」という。）に関し、米国食品医薬品局（以下「FDA」という。）よりファスト・トラックの指定を受けた。

2008年、当社および大塚製薬は、当社のドライ型AMDのための主要な化合物であるエミクススタトについて正式な共同開発契約を締結した。エミクススタトは、現在、米国においてフェーズ2臨床開発段階である。

2008年、当社および大塚製薬は、大塚製薬のドライアイ治療のための製品候補であるレバミピド点眼薬（以下「レバミピド」という。）の正式な共同開発契約を締結した。レバミピドは、現在、米国においてフェーズ2臨床開発段階である。

## 会計基準アップデート (ASU 第2009-13号) の採用による会計方針の変更

2009年10月、米国財務会計基準審議会（以下「FASB」という。）は、会計基準アップデート（以下「ASU」という。）第2009-13号「複数の提供物のある収益取決め」を公表した。これは、FASB会計基準コーディフィケーション（以下「ASC」という。）第605-25号「複数要素取決め」に基づく複数要素取決めに関する会計処理を変更するものである。ASU第2009-13号は、2010年6月15日以後に開始する会計年度において締結されたまたは重大な変更があった収益取決めに関し、見越しベースで適用される。遡及ベースによる採用を選択することも認められている。当社は、遡及適用の選択により将来の期間における財務情報の比較可能性が高まるため、当社の設立時からの全ての収益取決めに対しASU第2009-13号の遡及適用を選択した。会計方針の変更による当社の財務書類に対する影響として、2009年1月1日現在の累積欠損が4,679千米ドル減少した。

## 見積りの使用

米国で一般に認められた会計基準に準拠した財務書類を作成するため、経営陣は財務書類および添付の注記で報告された数値に影響を与える見積りおよび仮定を行わなければならない。実際の結果はこれらの見積りと相違する場合がある。

## 後発事象

当社は、財務書類の公表が可能となった日である2011年6月21日まで、財務書類において認識または開示される可能性のある後発事象および取引について評価を行った。

## 現金および現金同等物

現金および現金同等物は、取得日後3か月以内に満期が到来する、短期の流動性の高いすべての投資を含む。現金同等物は、2010年および2009年12月31日現在のマネー・マーケット・ファンド、地方債、コマーシャル・ペーパーおよび社債で構成される。

## 投資

2010年および2009年12月31日現在、投資はコマーシャルペーパー、社債、地方債、預金証書および資産担保証券で構成される。取得日時時点で満期が3か月から1年の投資は、短期投資に分類される。当社は、当社の投資を売却可能なものとみなしている。売却可能有価証券は、各貸借対照表日現在の市場価格に基づく公正価値で計上され、未実現利益および損失はその他の包括利益(損失)累計額の項目に純額で表示されている。

当社は、取得原価を下回る当社の投資の公正価値の下落が一時的といえないものであるかにつき定期的に評価している。かかる評価は当該未実現損失の深刻さおよび期間、ならびに当該投資を償却原価基準の回復まで当社が保有する可能性がそうでない可能性より高いかに関する複数の質的および量的要因で構成される。実現利益および損失ならびに一時的でないと判断された価値の下落は、損益計算書のその他の利益(費用)の項目下に計上される。

## 未収金

2010年および2009年12月31日現在の当社の未収金は、大塚製薬から受け取るべき金額から成る。経営陣は、大塚製薬との契約上の取決めに基づき、また回収が成功している経緯により、残高がすべて支払われることを確信しているため、2010年および2009年12月31日現在、貸倒引当金は計上されていない。

## 有形固定資産

有形固定資産は、減価償却累計額控除後の原価により計上される。当社は、器具備品について5年の見積耐用年数にわたり定額法で償却している。リース物件改良費は、費用で表示され、リース契約期間または資産の見積耐用年数のいずれか短い期間にわたり定額法で償却している。

維持および修理のための支出は、発生時に費用計上する。

使用目的の長期保有資産は、事象または状況の変化により帳簿価額が回収できない可能性が示されたときは、減損評価の対象となる。帳簿価額が、当該資産の割引前将来キャッシュフローに基づき回収不能である場合、減損金額は資産の簿価と公正価値との差額となる。当社は、2010年および2009年12月31日終了年度について、減損損失を計上していない。

## 収益の認識

当社の事業戦略には、当社の製品候補の開発および商業化のための製薬会社との提携契約の締結が含まれる。契約の条項には、払戻不能のライセンス使用料、研究開発活動の資金提供、開発マイルストーンの達成に基づく支払い、収益マイルストーンの達成に基づく支払いおよび製品売上のロイヤリティが含まれる場合がある。当社は以下の4つの基本的な指標に合致したときに収益を認識する。(a) 取決めについての説得力のある証拠が存在する場合、(b) 引渡しが行われたまたはサービスが提供された場合、(c) 手数料が固定または決定可能な場合、および(d) 回収可能性が合理的に保証されている場合。

## 複数要素契約

当社の提携契約は複数要素契約であり、契約に含まれる提供物を識別し、当該提供物が個別の会計単位とみなされるかを決定するために、分析されなければならない。(i) 提供済みの要素が単独で顧客にとって価値を有し、かつ(ii) 当該契約に提供済みの要素に関する一般的な返品の特権が含まれる場合、提供が済んでいない要素の提供または履行が可能でありかつ当社の実質的な管理下にあるとみなされる場合、提供物は個別の会計単位とみなされる。当社の提携契約において返品の特権はない。

契約の対価は、相対的販売価格に基づき個別の会計単位に配分される。当社は、まず第一に公正価値に関する売り手特有の客観的証拠 (以下「VSOE」という。) (通常当社が商品またはサービスを単独で販売する価格) の有無を判断し、各会計単位に対する販売価格を決定するためのヒエラルキーに従う。公正価値に関するVSOEが利用できない場合、類似の商品またはサービスを類似する状況の顧客に単独で販売する売り手である第三者による証拠 (以下「TPE」という。) を、公正価値を決定するために用いる。公正価値に関するVSOEおよびTPEのいずれも存在しない場合、当社は販売価格に関する最善の見積りを当該会計単位のために用いる。当社による販売価格に関する最善の見積りは、当社が会計単位を定期的に単独で販売する場合の取引価格を示している。

当社は、販売価格を見積る際、市場の状況および企業特有の要素を考慮する。各会計単位の販売価格が設定されると、受領した対価は相対的販売価格に基づき会計単位に配分され、適用可能な収益認識基準はそれぞれ個別の単位に適用される。個別の会計単位である提供済みの要素に配分される契約対価額は、固定または決定可能な契約対価に限られる。もっぱら当社の管理下でない将来の事象の発生による偶発的な支払いは、当該偶発性が解消するまでの間、配分可能な契約対価から除外される。

当社が継続的な履行義務を有する場合、2つの方法のうち1つを用いて収益を認識する。会計単位に基づくサービスの総額を見積ることができ、かかる履行義務が最善努力に基づき履行される場合、収益は比例履行法を用いて認識される。予想される費用の総額と比較した現在までに発生した費用は、これが完成物の引渡しを表すものとして比例履行の決定に用いられる。予想費用総額見積りの変更は、見積りの変更として将来にわたって計上される。当社が履行すべきサービスの総額を合理的に見積ることはできないが、履行義務が消滅するかまたは重要でなくなる時を合理的に見積ることができる場合、収益は時間基準法を用いて認識される。時間基準法のもとでは、収益は会計単位の見積履行期間にわたり均等に認識されるが、偶発事象の解消前を除く。当社の履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を当社が合理的に見積ることができない場合、履行義務が消滅するかまたは重要および実質的でなくなる時を合理的に見積ることができるまで、収益は繰り延べられる。収益は、履行の残存見積期間にわたり認識される。各会計単位において要求される努力の水準および当社の履行義務の完成に予想される期間の決定については、実質的な経営陣の判断が必要とされる。

#### 実体的マイルストーンの支払い

当社が締結した提携契約には実体的マイルストーンが含まれている。実体的マイルストーンとは、(i) 当該取決めの締結日において当該事象が達成されるかについて実体的な不確実性があり、(ii) 当該事象の達成の全部または一部が、当社の実績または当社の実績から生じた個別の結果に基づいており、かつ(iii) 当該事象の達成の結果、当社に対する追加的な支払いが発生するという条件を満たす事象をいう。マイルストーンが実体的であるとみなされるためには、当社の達成に関連する支払いは、(i) 過去の実績にのみ関連し、(ii) 取決めに含まれる提供物および支払条件と比較して合理的であり、かつ(iii) マイルストーンの達成に必要なとされた当社の努力またはマイルストーンの達成の結果がもたらした提供物の価値の増大と相応していなければならない。

前述のすべての条件が満たされ、当該マイルストーンの前払いが払戻不能である場合にのみ、実体的マイルストーンの前払いは当該マイルストーンの達成後に認識される。前払いが前述の条件を満たすかどうかの決定は、経営陣の判断に関わる。当社は、当該取決めの性質の評価を行い、当該取決めに對し適切な場合にマイルストーン法の適用を選択する方針を策定することを決定した。

前述の条件のうちいずれかを満たさない場合、得られた支払いは実体的なマイルストーンとはみなされず、したがって、かかる支払いは配分可能な取決め上の対価の一部とみなされ、比例履行または時間基準法のうち適用可能な方法に基づきまた前述の方針にしたがって、かかる履行義務が履行されるとともに収益として認識される。

#### 繰延収益

上記の収益認識基準を満たす前に受領した金額は、繰延収益として計上される。



## 法人税

当社は、繰延税金資産および負債を、財務書類または税務申告書においてすでに認識された事象の将来の税効果のため認識する。さらに、当社は、一定の株式報酬に関連する超過税金ベネフィットを認識していない。繰延税金負債および資産は財務書類上の帳簿価額と税務上の資産および負債の差異、営業損失ならびに繰越税額控除に基づき、当該差異または繰越が回収されるかまたは解消されると予想される年度において有効となると考えられる適用税率を用いて測定される。評価性引当金は、繰延税金資産のベネフィットが実現されない可能性が実現される可能性より高いと当社が考える場合に、計上される。

## 株式報酬

株式報酬費用は、持分報奨の見積公正価値に基づき付与日に測定され、見積失権分を控除し、必要な役務期間（通常は権利確定期間）にわたり費用として認識される。持分報奨は、通常、1年後に25%につき権利が確定し、その後毎月48分の1ずつ権利が確定することにより、4年間にわたり権利が確定し行使可能となる。各持分報奨の公正価値は、ブラック・ショールズのオプション価格決定モデルを用いて付与日に見積られる。当社は、定額法に基づき、株式報酬費用を認識している。付与日現在の株式報奨の公正価値の決定には、当社株式の予想ボラティリティ率、予想期間、無リスク金利および予想配当の見積りを含む判断が必要となる。

## 予想期間

当社のオプション価格決定モデルにおいて使用される予想期間は、当社の株式報奨が残存すると予想される期間を表示し、ASC第718号において示される単純化された手法に基づき決定される。単純化された手法は、権利確定期間およびオプションの契約期間の単純平均を用いる。当社におけるストック・オプション行使の実績は、予想オプション期間を見積る合理的な基準を提供しないことから、当社は予想オプション期間の決定のためにかかる単純化された手法を利用し続けている。

## 予想ボラティリティ率

当社のボラティリティ要因は、類似の公開会社株式のボラティリティ率を用いて見積られる。

## 予想配当

当社は過去に現金配当を支払ったことがなく、当面は、将来的に現金配当を支払う意向はない。したがって、当社の予想配当はゼロである。

## 無リスク金利

当社のブラック・ショールズの評価モデルにおいて使用される無リスク金利は、同等の期間について発行された米国財務省のゼロクーポン債のインプライド・イールドに基づいている。当社の株式報奨の予想期間が金利が示される期間に対応していない場合、当社は利率の決定のため入手可能な満期期間から定額補間を行う。

2010年および2009年12月31日に終了した年度に付与されたストック・オプションの公正価値は、ブラック・ショールズのオプション価格決定モデルを用い、以下の仮定を適用して計算された。

	2010年	2009年
無リスク金利	2.3%-2.8%	2.1%-3.8%
予想残存期間	6.3年	6.3-9.7年
配当利回り	-%	-%
予想ボラティリティ率	60%-65%	60%-67%

## 研究開発費

研究開発費には、給与、研究および開発活動を実施するための外部サービス提供者および開発業務受託機関への支払手数料、研究所備品、ライセンス料、顧問料、ならびに旅費が含まれる。研究開発費は発生時に費用計上される。一定の間接費用は、合理的な分配モデルに基づき、研究開発費と一般管理費とに分配される。

## 特許および弁護士費用

特許出願の申請、継続および防御に関する費用は、発生時に一般管理費に計上される。その他の弁護士費用は発生時に一般管理費に計上される。

## デリバティブ商品の会計

当社は、他の金融商品または契約に組み込まれた一定のデリバティブ商品を含む、デリバティブ商品およびヘッジ活動に関する会計および報告基準を定めているASC第815号「デリバティブおよびヘッジ」に従い、デリバティブ商品の会計処理を行っている。当社はまた、ASC第815号を、当社の株式で決済されるフリースタンドイングの契約をASC第815号に基づく持分商品、資産または負債のいずれとして指定すべきかを判断するための基準を提供するものと考えている。

当社は、シリーズA、BおよびC転換優先株式に組み込まれた転換条項を優先株式から分離させ、デリバティブとして別に会計処理されることが要求されるかどうかを判断するため、ASC第815号の基準にしたがい、当該転換条項を評価した。経営陣の評価に基づき、当該組込転換条項について分離およびデリバティブ会計による処理は要求されない。

当社は、ASC第815号の基準に基づき当社の転換社債に組み込まれた転換条項を支払手形から分離させ、デリバティブとして別に会計処理されることが要求されるかどうかを判断するため、ASC第815号の基準にしたがい、当該転換条項を評価した。経営陣の評価に基づき、当該組込転換条項は分離およびデリバティブ会計による処理が要求される。ただし、かかるデリバティブの公正価値は当初から少額である。

## 再分類

前期の一定の残高は当期の表示に一致させるため再分類されている。

## 注記2．リスクの集中

2010年および2009中、当社の収益は全て大塚製薬との提携契約によって発生したものである。

## 注記3．提携およびライセンス契約

### エミクススタト提携

2008年、当社および大塚製薬は、エミクススタトについて、米国、カナダおよびメキシコ（共通テリトリー）におけるドライ型AMDおよびその他の潜在的適応症に関する共同開発および商業化につき正式契約を締結した。当社は、欧州、南アメリカ、中央アメリカ、カリブ諸国およびアフリカ（Acucelaテリトリー）において全権利を保持し、大塚製薬はアジア、中東および世界のその他の地域における特定の市場（大塚製薬テリトリー）において同化合物の開発および商業化に関する排他的権利を所有している。大塚製薬は契約締結時に、当社に対し、5百万米ドルの払戻不能のライセンス料を前払いで支払った。

本契約に基づき、大塚製薬は、共通テリトリーにおけるフェーズ2までの全開発活動について最高40百万米ドルまで資金提供する。フェーズ2における開発費用が40百万米ドルを超過する場合、大塚製薬は、その単独裁量により、(i) 契約を終了するか、(ii) 契約を継続し40百万米ドルを超過する全開発費用を当社と均等に負担するかを選択することができる。フェーズ3費用は均等に負担することとなっている。更に、当社は総額82.5百万米ドルに上る開発マイルストーンを受領する可能性がある。本契約の共同開発部分は共同開発委員会（JDC）が定める。

大塚製薬は、フェーズ2開発費用に加え、フェーズ3開発費用のうち当社負担分を担保付約束手形の形で資金提供する。当該約束手形には、(a)利息は日次で発生し、年間360日ベースで計算され、当社に対し貸付けられた全額に対して貸付日から全額支払われるまで発生すること、(b)未払利息は年次で複利となること、(c)適用金利は四半期毎にその時々の実効金利、すなわち各暦四半期の第1営業日にウォール・ストリート・ジャーナル紙の「Money Rates」欄に記載される3か月ロンドン銀行間取引金利(以下「LIBOR」という。)に、3%を加えた数字を反映するために調整されること、ならびに(d)全額米ドルにより支払われることが定められている。

当該借入金は、当該提携に基づく製品により将来収益が発生した場合にのみ、返済される。

本契約には、大塚製薬に対し、共通テリトリーおよびAcucelaテリトリーの両方における、純利益およびロイヤリティ支払いに対する当社の全持分、ならびに関連提携化合物および提携製品の所有権ならびに前提となる知的財産権の当社の全持分について第一優先担保権を付与する担保権合意が含まれる。

本契約は資金提供を受けた開発の要素を含むため、当社の大塚製薬に対する債務が、借入金返済に関わる債務として計上されるべきか、または契約上の役務を提供する債務として計上されるべきかを判断するため、当社はASC第730-20号「研究開発契約」に従い本契約を評価した。貸金返還債務が存在しないとの結論に至るためには、当社から大塚製薬への研究開発に関連する財務リスクの移転が、実体的かつ真正である必要がある。当社は、当社の大塚製薬に対する債務は、契約上の役務を提供する債務であると判断した。何故なら返済は開発結果に将来の経済的便益が存在することのみに依存しているからである。

商業化がなされた場合、両契約当事者は共通テリトリーにおいて製品を共同販売することができ、また共通テリトリー内の製品販売による費用および収益を均等に分配することができる。当社は、共通テリトリーにおいて国別ベースで共同販売の選択権を行使することができる。当社が共通テリトリー内の国または複数の国において共同販売を行うことを選択しない場合、大塚製薬は当社が共同販売を選択しない共通テリトリー内の国または複数の国における提携製品の年間純売上高総額について当社に対してロイヤリティを支払う。各当事者は、それぞれの単独テリトリーにおける年間純売上高総額について2%のロイヤリティを他方当事者に対して支払う。これに加え、当社は総額175百万米ドルに上る純売上高マイルストーンを受領する可能性を有する。共同販売の合意については共同商業化委員会(JCC)が定める。

本契約には3年間の研究プログラム(以下「研究プログラム」という。)も含まれる。同研究プログラムの目的は、主たる提携化合物につき第2適応症を特定し、提携化合物のバックアップ化合物の開発を行うことである。かかる3年間において、大塚製薬は当社に対し、年間5百万米ドルを四半期毎に支払った。本契約は、契約期間中に当社が(提携活動とは独立して)発見または開発した新化合物のライセンスについての優先交渉権を大塚製薬に提供する。

大塚製薬と当社との間の契約は複数要素の取決めであり、当社は同取決め中の要素には、ライセンス、研究プログラム、開発および共同販売が含まれる旨判断した。

大塚製薬に対して付与されるライセンスは、大塚製薬にとり単独で価値を有するものであるため、個別の会計単位であると判断された。

大塚製薬は、当社により提供される開発またはリサーチ・プログラム・サービスとは独立してライセンス付与または知的財産の開発を行うことができるため、当社はライセンスの正味現在価値(NPV)の測定を行ったところ、契約開始時におけるライセンスの単体見積売却価格はライセンス料として受領された取決め対価を超過した。提供済み要素に対して配分される価値は、取決め対価を超過することはできないことから、支払われた取決め対価5百万米ドルがライセンスに配分された。

開発に関する活動は大塚製薬にとり単独で価値を有するため、これらのサービスは個別の会計単位としての基準を満たしている。当社は、開発サービスに関し請求される料金が、第三販売者が類似の開発サービスについて請求する価格に対し競争力を有すると判断した。開発努力に基づく収益は、サービスが実施されるとともに認識される。2010年および2009年において、当社は開発活動関連収益として、それぞれ15,580千米ドルおよび14,484千米ドルを認識した。

研究プログラムに関する活動は大塚製薬にとり単独で価値を有するため、これらのサービスは個別の会計単位としての基準を満たしている。研究プログラムにおいて想定されるサービスの種類は、第三者によっても実施可能なものである。研究サービスについて請求される料金は、第三販売者が類似研究サービスについて請求する価格に対し競争力を有すると当社は判断した。研究プログラム販売価格についてのTPEは15百万米ドルであり、契約対価と一致する。研究活動による収益は、比例履行法により認識された。2010年および2009年において当社は研究活動関連収益としてそれぞれ5,158千米ドルおよび4,285千米ドルを認識した。2010年および2009年12月31日現在、それぞれ557千米ドルおよび715千米ドルが、研究開発に関連する繰延収益として残存していた。

当社は取決めにおける開発および純売上高マイルストーンを評価し、ASU第2010-17号に基づくマイルストーンの基準を充たすものと判断した。当社は、実体的マイルストーン全体の達成を条件とする対価を、そのマイルストーンが達成された期間において認識する。2010年または2009年12月31日終了年度において、開発または純売上高マイルストーンは達成されなかった。

### **レバミピド提携**

2008年、当社および大塚製薬は、ドライアイ治療に用いられる大塚製薬の専有化合物であるレバミピドの共同開発につき正式契約を締結した。本契約に基づき両当事者は、米国におけるレバミピドの臨床開発努力において提携する。大塚製薬は当社に対し2百万米ドルを前払いで支払い、当社は総額30百万米ドルに上る臨床開発マイルストーン、ならびに米国および欧州連合における製品の純売上高に対するロイヤリティを受領する可能性を有する。本契約に基づき、大塚製薬はすべての臨床開発および商業化費用について負担する。規制当局への申請がなされた場合、当社が大塚製薬と米国においてレバミピドを共同販売することができる条件について当事者は交渉を行うことができる。

当社は契約を評価し、臨床開発が本取決めに基づく唯一の提供物であると判断した。臨床開発努力による収益は、サービスが提供されるとともに認識される。2010年および2009年において、当社は、レバミピド臨床開発活動関連収益として、それぞれ15,067千米ドルおよび8,250千米ドルの収益を認識した。当社は本契約に基づく開発マイルストーンを評価し、ASU第2010-17号に基づくマイルストーンの基準を充たすと判断した。当社は、実体的マイルストーン全体の達成を条件とする対価を、そのマイルストーンが達成された期間において認識する。2010年または2009年12月31日終了年度において、開発マイルストーンは達成されなかった。

大塚製薬による2百万米ドルの当社に対する前払いによる支払いは、債務超過、重大違反または窪田氏による当社に対する役務の提供の終了により返還対象となる。本契約の返還条項に基づき、当社は2010年および2009年12月31日現在、2百万米ドルの支払いを繰延収益として区分している。適切な返還条項が充足された場合には、当社は当該支払いを収益として認識する。

### **OPA-6566 提携**

2010年、当社および大塚製薬は、緑内障治療に用いられる大塚製薬の専有化合物であるOPA-6566の開発について正式契約を締結した。本契約は当社に、米国におけるOPA-6566の共同開発および共同販売について選択権を付与する。当社が選択権を行使するまで、大塚製薬は開発活動の指揮および費用について単独で責任を負う。当社が選択権を行使した場合、大塚製薬は以下を含む追加的選択権を当社に対し付与する：(1)米国において、緑内障以外の眼科的適応症につきOPA-6566を共同開発および共同販売する権利、(2)米国において、緑内障につき新製剤を共同開発および共同販売する権利、ならびに(3)米国において、眼科的疾患治療に用いられるその他のアデノシンA2a受容体アゴニスト化合物の共同開発および共同販売についての第一交渉権。

当社は契約を評価し、開発が取決めに基づく唯一の提供物であると判断した。開発努力による収益は、サービスが実施されるとともに認識される。2010年中、当社は、契約履行による収益として、652千米ドルを認識した。

#### 注記4．短期投資および現金同等物

2010年および2009年12月31日現在の短期投資および現金同等物には以下が含まれる (単位: 千米ドル)。

	2010年12月31日			
	償却原価	未実現 評価益総額	未実現 評価損総額	公正価値
有価証券の種類				
コマーシャルペーパー	\$ 1,301	\$ -	\$ (1)	\$ 1,300
社債	2,805	-	(5)	2,800
地方債	4,406	-	(28)	4,378
預金証書	200	-	-	200
マネー・マーケット・ファンド	1,948	-	-	1,948
	<u>\$ 10,660</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ (34)</u>	<u>\$ 10,626</u>

	2009年12月31日			
	償却原価	未実現 評価益総額	未実現 評価損総額	公正価値
有価証券の種類				
コマーシャルペーパー	\$ 3,424	\$ 1	\$ -	\$ 3,425
社債	1,901	-	-	1,901
資産担保証券	758	-	-	758
マネー・マーケット・ファンド	9,246	-	-	9,246
	<u>\$ 15,329</u>	<u>\$ 1</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 15,330</u>

2010年および2009年12月31日現在において保有されるすべての投資証券は12か月以内に満期を迎える。有価証券の売却は、固有の特定法を用いて特定される。表示期間において、実現利益または損失は認識されなかった。

#### 注記5．公正価値測定

金融資産は、以下の3カテゴリーのいずれかに分類され、開示される。

レベル1 - 活発な市場における、同一の資産および負債の取引相場価格。

レベル2 - 活発な市場における、同一の資産および負債の取引相場価格以外の観測可能なインプット

レベル3 - 市場データがわずかまたは皆無であり、報告会社が独自の仮定を確立する必要がある観測不可能なインプット

2010年および2009年12月31日現在の経常的に公正価値により測定される当社の金融資産は、以下の通りである (単位: 千米ドル)。

2010年12月31日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 1,948	\$ -	\$ -	\$ 1,948
地方債	-	1,030	-	1,030
コマーシャルペーパー		250	-	250
社債		1,804	-	1,804
	\$ 1,948	\$ 3,084	\$ -	\$ 5,032
短期投資:				
コマーシャルペーパー	\$ -	\$ 1,050	\$ -	\$ 1,050
社債	-	996	-	996
地方債	-	3,348	-	3,348
預金証書	200		-	200
	\$ 200	\$ 5,394	\$ -	\$ 5,594
2009年12月31日				
	レベル1	レベル2	レベル3	合計
現金同等物:				
マネー・マーケット・ファンド	\$ 9,246	\$ -	\$ -	\$ 9,246
コマーシャルペーパー	1,225	-	-	1,225
社債	-	1,801	-	1,801
	\$ 10,471	\$ 1,801	\$ -	\$ 12,272
短期投資:				
コマーシャルペーパー	\$ 2,200	\$ -	\$ -	\$ 2,200
社債	-	100	-	100
資産担保証券	-	758	-	758
	\$ 2,200	\$ 858	\$ -	\$ 3,058

当社の確定利付投資有価証券は、市場アプローチを用いて評価される。

## 注記6．有形固定資産

2010年および2009年12月31日現在、当社の固定資産は、以下のとおりに構成された（単位：千米ドル）。

	12月31日	
	2010年	2009年
実験装置	\$ 2,175	\$ 1,714
オフィス家具および設備	392	107
リース物件改良費	1,791	1,161
	4,358	2,982
減価償却累計額	(2,375)	(1,709)
有形固定資産（純額）	\$ 1,983	\$ 1,273

2010年および2009年12月31日に終了した年度において計上された減価償却費は、それぞれ697千米ドルおよび582千米ドルであった。

## 注記7．支払手形

2006年5月29日、当社は、3,250千米ドル、3,250千米ドルおよび5.5百万米ドルが、それぞれ2009年8月31日、2010年6月30日および2012年11月30日に満期を迎える、元本総額12百万米ドルの無担保約束手形の私募を完了した。かかる約束手形の満期は、手形保有者の投資ファンドの満期の延長において自動的に延長される。かかる約束手形は、年1%の利息が発生し、満期に支払われる。

2009年8月31日、当社は、2009年8月31日満期の無担保約束手形の条件を再交渉した。当初満期日は1年間、すなわち2010年8月31日まで延長され、延長期間における利率は、当初の年間1%から年間1.2%に上げられた。支払条件は、2006年5月29日から2010年8月31日までの間におけるすべての利息の即座の支払いを要求するものに修正された。

2010年6月30日、当社はまた、2010年6月30日満期の無担保約束手形の条件も再交渉した。当初満期日は1年間、すなわち2011年6月30日まで延長され、延長期間における利率は、当初の年間1%から年間1.05%に上げられた。かかる約束手形の再交渉期間の終了までにおけるすべての利息は支払われた。

2010年8月31日、当社は、2010年8月31日満期の無担保約束手形の条件を再交渉した。満期日は1年間、すなわち2011年8月31日まで延長され、延長期間における利率は、当初の年間1.2%から年間1.02%に下げられた。かかる約束手形の再交渉期間の終了までにおけるすべての利息は支払われた。

1年以内に支払期日が到来する支払手形6.5百万米ドルおよび付随する前払利息費用39千米ドルは、貸借対照表において、それぞれ一年以内満期の支払手形および前払費用に分類された。支払期日が1年を超過する支払手形5.5百万米ドルおよび付随する未払利息253千米ドルは、貸借対照表において、それぞれ長期支払手形および長期未払利息に分類された。手形が自動延長される場合、当社は、満期から90日以内に通知を受ける。

支払手形は、1株当たり価額が3.50米ドル以上および純調達額総額25百万米ドル以上の確定契約に基づく引受公募の完了により、自動的に普通株式に転換される。転換において発行される株式数は、手形の元本を3.30米ドルで除して決定される（その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割による調整の対象である）。

当社の清算、解散または整理において、当社の資産および資金は、手形保有者が当社の優先株式の保有者が清算分配を支払われるのと同等の優先順位で、すなわち普通株式の保有者がいかなる分配をも受ける前に、これに優先的に、手形に基づくすべての未払元利金の支払いを受けるよう分配される。優先株式および手形の保有者に対して分配される資産が、それぞれの優先的分配権の保有者に対する支払いに不十分である場合、分配のために法的に残存する資産および剰余金は、さもなければ各保有者が受領する権利を有したであろう優先的金額に比例して、優先株式および手形の保有者に対して分配される。

満期日より前に完了する当社の売却もしくは当社の実質上すべての資産の売却、または特定の合併もしくは新設合併取引において、手形の保有者は以下の選択肢を有する。

- ・かかる取引の完了において手形の未払元本および発生した利息のすべてが支払われる。
- ・手形は、手形の保有者が、公募における転換と同様の方法で算出される普通株式を手形の代わりに保有していた場合に、かかる取引の条件に基づき手形の保有者が権利を有したであろう金額と同等の金額により、現金で償還される。
- ・手形は、シリーズC優先株式に転換される。転換により発行される株式数は、手形の未払元本をシリーズC優先株式の当初の発行価額1.10米ドルで除し、決定される。

当社は、ASC 815の基準に基づき支払手形に含まれる組込転換条項を評価し、転換条項は支払手形とは分離され、デリバティブとして区分処理することを決定した。確定契約に基づく引受公募の完了時に発生する転換条項は評価された上、分離区分を不必要とする一定の基準を満たしているものと決定された。当社が売却された場合に発生する転換条項は評価された上、かかるデリバティブは、保有者が当社の普通株式の価値に基づき現金で債務を清算するオプションを保有していることから、分離して区分されるべきであると決定された。かかるデリバティブは公正価値で計上され、未決済の期間にわたり、その公正価値の変動はその他の利益または費用として認識される。かかるデリバティブの公正価値は、当初から少額である。

手形の保有者であり、当社の投資家の一名であるSBIホールディングス株式会社は、無担保支払手形の利息支払いを、2010年および2009年にそれぞれ200千米ドルおよび145千米ドル受領した。当社の取締役である北尾吉孝氏は、SBIホールディングス株式会社の代表取締役兼最高経営責任者である。

## 注記8．法人税

2010年12月31日現在、当社は17,402千米ドルの繰越欠損金を有しており、研究開発費用の繰越税額控除は1.6百万米ドルであった。繰越欠損金および繰越税額控除は、将来の税金負債を相殺するために活用される。繰越欠損金は、2023年から2029年の間に失効し、研究開発費用の税額控除は、2022年から2027年の間に失効する。欠損金の利用は、内国歳入法 (IRC) 382条により設定される、所有者変更の制限の対象となる可能性がある。年間の制限により、繰越欠損金は活用される前に失効する可能性がある。2010年12月31日に終了した年度において、過去の所有者変更の影響の分析の結果として、当社は、IRC382条による繰越欠損金の制限を反映するために、繰越欠損金を705千米ドル (税務ベネフィットにおいて約240千米ドル) 減額した。

繰延税金資産は、財務報告および税務報告の一時的差異により生じる。当社は、当社がベネフィットを実現できる前に繰延税金資産が失効する可能性が失効しない可能性より高い、または将来の税控除可能性が不確実である場合のいずれかにおいて、評価性引当金を設定する。評価性引当金は定期的に見直され、経営陣による繰延税金資産の実現可能性の評価に基づき調整される。2010年12月31日に終了した年度において、当社は、当社の繰延税金資産の一部が実現される可能性は実現されない可能性より高いと判断し、評価性引当金を減額した。評価性引当金減額の4,466千米ドルは、法人税費用の減額として反映された。2009年12月31日現在、当社は、繰延税金資産のベネフィット実現の不確実性から、繰延税金資産を相殺するために、評価性引当金を全額設定した。



2010年および2009年12月31日に終了した年度における繰延税金資産は以下のとおりである (単位: 千米ドル)。

	12月31日	
	2010年	2009年
繰延税金資産:		
繰越欠損金	\$ 5,917	\$ 6,268
研究開発費用の繰越税額控除	1,600	1,600
繰延収益	869	863
繰延賃借料	263	175
有形固定資産	171	125
報酬	112	123
繰延税金資産合計	\$ 8,932	\$ 9,154
評価引当金控除	(4,466)	(9,154)
繰延税金資産 (純額)	\$ 4,466	\$ -
分類:		
短期繰延税金資産	\$ 494	\$ -
長期繰延税金資産	3,972	-
繰延法人税資産 (純額)	\$ 4,466	\$ -

2010年の評価引当金のうち短期および長期の分類は、それぞれ648千米ドルおよび3,818千米ドルであった。

2010年および2009年において、当社は、課税所得を有していた (繰越欠損金の活用により相殺された)。2010年および2009年における代替ミニマム税は、研究開発費税額控除の活用により相殺された。

法人税引当金の内訳は、以下のとおりである (単位: 千米ドル)。

	12月31日終了の年度	
	2010年	2009年
当期	\$ -	\$ -
繰延	(4,466)	(15)
合計	\$ (4,466)	\$ (15)

当社の実行所得税率に対する法定連邦所得税率の調整は、以下のとおりである。

	12月31日終了の年度	
	2010年	2009年
法定税率	34.0%	35.0%
評価性引当金の減額	(98.4)	0.0
繰越損失の活用	(37.7)	(38.2)
株式報酬	3.2	2.3
研究費税額控除	0.0	(0.7)
その他 (純額)	0.6	1.0
実効税率	(98.3%)	(0.6)%

当社は、米国の連邦管轄区域において所得税の申告を行っている。当社はもはや、2007年より前に関する米国連邦レベルの税務当局による税務調査の対象ではない。しかしながら、国税庁 (IRS) は、2007年より前の税年度より繰越された一定の未利用の租税属性を調整することができる。当社は、州所得税を申告していない。

当社は、税務ポジションのテクニカル・メリットに基づいて、税務当局による調査にあたり、税務ポジションを維持できる可能性が維持できない可能性より高い時にのみ、不確実な税務ポジションからの税務ベネフィットを認識する。財務書類において認識されるかかるポジションからの税務ベネフィットは、最終的な決定において、認識される可能性が50%超である最大のベネフィットに基づき測定される。しかしながら、2010年および2009年12月31日現在において、重要な未認識税務ベネフィットはなかった。さらに、当社は、以後12か月間において、未認識税務ベネフィットにおけるいかなる重要な修正も見込んでいない。

当社は、法人税費用において、不確実な税務ポジションに対する当社の負債に関連する利息および罰金を認識している。しかしながら、2010年および2009年12月31日に終了した年度において、未認識税務ベネフィットに関連するいかなる未払利息または罰金もなかった。

## 注記9 . コミットメント

### リース

当社は、2015年に満了する、解約不能オペレーティング・リース契約に基づき、研究施設および会社オフィス・スペースならびに器具備品を賃借している。研究施設のリース契約には、2つの3年間の更新オプションが含まれ、会社オフィスのリースにも、3年間の更新オプションが含まれる。リース・インセンティブは、債務として認識され、リース期間にわたり賃借費用として償却される。オペレーティング・リースに基づく最低賃借料支払額は、リース期間 (無料および減額賃貸期間を含む。) にわたり定額法により認識される。

2010年12月31日現在の、当初または残存リース期間が1年超の解約不能オペレーティング・リースに基づく将来の最低リース支払額は以下のとおりである。(単位: 千米ドル)

2011年	\$	1,107
2012年		376
2013年		475
2014年		469
2015年		76
最低リース支払額合計	\$	<u>2,503</u>

2010年および2009年における賃借費用は、それぞれ997千米ドルおよび530千米ドルであった。

## 注記10 . 株主資本

### 普通株式

当社は、60,000,000株の無額面の授権普通株式を保有している。

### 転換優先株式

当社は、52,452,514株の無額面の授権優先株式を保有している。優先株式は1以上のシリーズにより発行可能であり、各シリーズにつき、発行時に当社の取締役会が決定しうる名称、権利、制限、限定および制約が付される。当社はそれぞれ2,734,334株、17,899,998株および31,818,182株のシリーズA、シリーズBおよびシリーズC優先株式を、以下の条件で発行した。

## 転換

シリーズAおよびB優先株式の各株式は、発行後いつでも、保有者による選択により、0.25米ドルを、転換時に有効な転換価額で除して決定される数の普通株式に転換可能である。0.75米ドルの当初転換価額は、その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割に際し調整される。

シリーズC優先株式は、発行後いつでも、保有者による選択により、1.10米ドルを、転換時に有効な転換価額で除して決定される数の普通株式に転換可能である。3.30米ドルの当初転換価額は、その後の資本再構成、株式併合、株式配当または株式分割に際しに調整される。

シリーズA、BおよびC優先株式は、1株当たり価額が3.50米ドル以上および調達額が総額25百万米ドル以上の確定契約に基づく引受公募の完了により、自動的に普通株式に転換される。

## 清算

当社の清算、解散、整理、当社の売却もしくは当社の実質上すべての資産の売却において、または特定の吸収合併もしくは新設合併取引において、シリーズAおよびB優先株式の保有者は、普通株式の保有者が当社資産のいかなる分配をも受ける前に、優先的に、1株当たり0.75米ドルに、シリーズAおよびB優先株式に対し宣言されたすべての未払配当金と同等の金額を加えた金額を受領する権利を有する。シリーズC優先株式の保有者は、普通株式の保有者が当社資産のいかなる分配もを受ける前に、優先的に、1株当たり1.10米ドルに、シリーズC優先株式に対し宣言されたすべての未払配当金と同等の金額を加えた金額を受領する権利を有する。

シリーズA、BおよびC優先株式および約束手形の保有者に対し分配される資産が、それぞれの優先的分配権の保有者に対する支払いに不十分である場合、分配のために法的に残存する資産および剰余金のすべては、さもなければ各保有者が受領する権利を有したであろう優先的金額に比例して、シリーズA、BおよびC優先株式ならびに約束手形の保有者に対して分配される。必要とされる優先的分配の完了において、分配可能な当社の残存資産は、普通株式の保有者に分配される。

## 配当金

シリーズA、BおよびC優先株式の保有者は、当社の普通株式に対するいかなる配当金の宣言または支払いにも優先して、取締役会による宣言時に、かかる宣言のとおり配当金を受領する権利を有する。かかる配当は非累積的である。

## 投票

各シリーズA、BおよびC優先株式は、議決権の基準日においてそれぞれの優先株式が転換可能である、完全な1普通株式に対し1個の議決権を有する。授權優先株式数の変更、優先株式の保有者の優先権、権利、特権もしくは権限の変更または取引後において当社の株主資本の保有者の議決権が取引後50%未満となる売却、吸収合併もしくは新設合併において、当社は、種類による別個の議決として、シリーズA、BまたはC優先株式の保有者の過半数から、賛成票または書面による同意を得なければならない。

## 注記11. 株式報酬

## ストック・オプション・プラン

2002年、取締役会は2002年ストック・オプションおよび制限付株式プラン（以下「本プラン」という。）を採用、承認した。本プランでは非適格および適格ストック・オプションが従業員および相談役に発行され、普通株式を取得できる。取締役会は、本プランに連動して発行される普通株式2,000,000株を留保している。各オプションの有効期間は10年間である。持分報酬は、通常4年間にわたって権利が確定し、行使可能となる（1年後に25%、その後毎月1/48の割合で権利が確定する。）。オプション契約には、オプション行使により取得した株式の売却に関する制限が含まれる。

2010年および2009年12月31日に終了した年度における、当社のストック・オプションの変動は、以下のとおりである。

	付与可能な株式数	未行使 オプション株式数	オプション株式の 加重平均行使価額	行使可能な オプション数
2009年1月1日現在	1,402,741	586,767	\$ 1.10	430,949
付与	(479,000)	479,000	3.23	
行使	-	(141,300)	0.46	
失権	200,471	(200,471)	2.42	
2009年12月31日現在	1,124,212	723,996	2.27	316,004
付与	(238,000)	238,000	4.97	
行使	-	(80,000)	0.56	
失権	213,017	(213,017)	2.94	
2010年12月31日現在	1,099,229	668,979	\$ 3.22	354,015

2010年および2009年12月31日現在における、行使可能なオプションの加重平均行使価額は、それぞれ2.09米ドルおよび1.11米ドルであった。

2010年および2009年12月31日に終了した年度において行使されたストック・オプションの本質的価値の合計は、それぞれ339千米ドルおよび391千米ドルであった。

2010年および2009年12月31日現在における、未行使ストック・オプションの本質的価値の総額は、それぞれ977千米ドルおよび1,826千米ドルであった。

2010年および2009年12月31日現在における、行使可能なストック・オプションの本質的価値の総額は、それぞれ864千米ドルおよび1,162千米ドルであった。

2010年および2009年において付与されたストック・オプションの公正価値の加重平均は、それぞれ2.94米ドルおよび2.11米ドルであった。

2010年および2009年12月31日現在における、未行使および行使可能なオプションの情報は、以下要約のとおりである。

2010年12月31日			
行使価額	残存期間の加重平均		行使可能なオプション
	オプション株式数	(年)	
\$0.12-\$0.62	70,000	3.45	70,000
\$1.45-\$3.23	362,479	4.80	280,286
\$4.52-\$5.19	236,500	9.52	3,729
	668,979	6.33	354,015

2009年12月31日			
行使価額	残存期間の加重平均		行使可能なオプション
	オプション株式数	(年)	
\$0.12-\$0.62	171,250	4.85	171,250
\$1.45-\$2.25	128,746	7.49	112,907
\$3.23-\$3.23	424,000	9.36	31,847
	723,996	7.96	316,004

2010年および2009年12月31日現在における、行使可能なオプションの残存契約期間の加重平均は、それぞれ3.76年および6.21年であった。

2010年および2009年12月31日現在、本プランに基づき付与された、未確定の株式型報酬取決めに関連する未認識報酬費用の合計は、それぞれ775千米ドルおよび756千米ドルであった。かかる費用は、それぞれ加重平均である3.1年にわたって認識される予定である。2010年および2009年12月31日に終了した年度において権利確定した株式の公正価値の合計は、それぞれ338千米ドルおよび164千米ドルであった。当社は現在、株式報酬の行使を充足するために、未発行の授権株式を利用している。

### CEO株式契約

当社は、窪田良氏との間に雇用契約を結んでいる。当社の普通株式の新規公募まで、当社は、雇用契約に基づき、窪田氏が、転換ベースで当社の発行済議決権付株式の51%以上の持ち株比率を維持するために必要な頻度で、ストックオプションを付与すること、または制限付普通株式の購入を認めることを義務付けられている。これらの報奨に基づく株式は、付与日から36か月間に渡り、四半期ごとに消滅する買戻条項の対象である。オプションが行使されるか、または転換証券が当社の株式資本に転換されない限り、窪田氏の持ち株比率の算出において、未行使オプションおよび転換証券は含まれない。各株式付与の取得価額は、有利子償還請求権付約束手形により支払うことができる。雇用契約の条件に基づき、当社は、窪田氏に対してかかる約束手形に基づく元利金および窪田氏がかかる賞与を受領することにより発生する追加的な税金（もしあれば）で構成される現金賞与を定期的に支払うことが義務付けられている。

当社は、本契約をASC718「株式報酬」に基づき扱っている。雇用契約では、窪田氏に対する、役務および業績条件に基づく持分報奨について規定している。付与日および測定日は、取締役会がオプション付与または窪田氏に対する制限付株式の売却を承認する日である。報奨の公正価値は、当社の普通株式の現在の公正価値により設定される。本契約に関連する報酬費用は、一般管理費に含まれる。

2007年5月4日、シリーズC優先株式の募集に関連し、当社は窪田氏との間に、1,942千米ドルに値する満期3年の約束手形との交換により普通株式を1,339,320株発行する制限付株式購入契約を締結した。かかる約束手形は普通株式により担保されており、当社は発行者に対して償還請求権を有している。手形に対し、年率4.9%で複利が発生する。2009年において、当社は、かかる報奨に関する報酬費用として1,081千米ドル (31千米ドルの利息を含む。) を計上した。2009年12月31日現在、かかる約束手形に基づく残高はない。

2009年8月27日、ストック・オプションの行使に関連し、当社は窪田氏との間に、440千米ドルに値する満期3年の約束手形との交換により普通株式を136,100株発行する制限付株式購入契約を締結した。本契約の締結と同時に、当社は、窪田氏に対して賞与を支払い、かかる賞与は約束手形の支払いに使用された。2009年において、当社は、かかる報奨に関する報酬費用として702千米ドルを計上した。

当社は、2010年5月28日、ストック・オプションの行使に関連し、窪田氏との間に、550千米ドルに値する満期3年の約束手形との交換により普通株式を106,000株発行する制限付株式購入契約を締結した。本契約の締結と同時に、当社は、窪田氏に対して賞与を支払い、かかる賞与は約束手形債務の支払いに使用された。当社は、報奨に関連する報酬費用として、約717千米ドルを計上した。

#### 注記12.401(k)退職プラン

当社は、1986年内国歳入法第401条k項 (改訂済) に基づく従業員退職プランを提供している。最低限の適格要件を満たすすべての従業員は、かかるプランに参加する資格を有する。現在までに、当社はプランのために行われた従業員拠出に対応する拠出を行っていない。

#### 注記13. 関連当事者取引

取締役であるPeter Kresel氏 (経営学修士保有) は、コンサルティング・サービスおよび直接経費の払戻しとして当社から支払いを受けた。Kresel氏のコンサルティング・サービスおよび経費の払戻しに対する支払いは、2010年および2009年において、それぞれ218千米ドルおよび216千米ドルであった。

[前へ](#)

[次へ](#)

## Balance Sheets

(Amounts in Thousands, Except Share Data)  
Unaudited

	2010		December 31 2009		2008	
	US\$	JPY	US\$	JPY	US\$	JPY
<b>Assets</b>						
Current assets:						
Cash and cash equivalents	13,997	1,433,852	12,059	1,235,323	8,213	841,339
Short-term investments	5,594	573,049	3,058	313,261	-	-
Accounts receivable	7,097	727,016	6,841	700,792	6,549	670,879
Deferred tax asset	494	50,605	-	-	-	-
Prepaid expenses and other current assets	994	101,825	181	18,541	42	4,302
Total current assets	28,176	2,886,349	22,139	2,267,919	14,804	1,516,521
Property and equipment, net	1,983	203,138	1,273	130,406	1,363	139,625
Deferred financing costs, net	22	2,253	39	3,995	70	7,170
Long-term deferred tax asset	3,972	406,891	-	-	-	-
Security deposits	656	67,200	187	19,156	187	19,156
Total assets	34,809	3,565,833	23,638	2,421,476	16,424	1,682,474
<b>Liabilities and stockholders' equity</b>						
Current liabilities:						
Current maturities of notes payable, related party	6,500	665,860	6,500	665,860	3,334	341,534
Accounts payable	1,627	166,669	3,076	315,105	481	49,273
Accrued liabilities	3,062	313,671	311	31,858	226	23,151
Accrued compensation	358	36,673	768	78,673	134	13,726
Capital lease obligation	-	-	-	-	69	7,068
Short-term deferred revenue	557	57,059	715	73,244	-	-
Short-term deferred rent and lease incentives	365	37,390	161	16,492	-	-
Total current liabilities	12,469	1,277,324	11,531	1,181,235	4,244	434,755
Long-term deferred rent and lease incentives	486	49,785	201	20,590	501	51,322
Long-term deferred revenue	2,000	204,880	2,000	204,880	6,679	684,196
Long-term notes payable, related party	5,500	563,420	5,500	563,420	8,750	896,350
Long-term interest payable, related party	253	25,917	197	20,180	227	23,253
Total long-term liabilities	8,239	844,003	7,898	809,071	16,157	1,655,123
Commitments (Note 9)						
Stockholders' equity:						
Convertible preferred stock, no par value, 52,452,514 shares authorized:						
Series A, no par value, 2,734,334 shares authorized, issued and outstanding (liquidation value of \$2,051)	2,051	210,104	2,051	210,104	2,051	210,104
Series B, no par value, 17,899,998 shares authorized, issued and outstanding (liquidation value of \$13,425)	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364	13,387	1,371,364
Series C, no par value, 31,818,182 shares authorized, 11,807,272 shares issued and outstanding (liquidation value of \$12,988)	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261	12,771	1,308,261

Common stock, no par value, 60,000,000 shares authorized; 11,893,987 and 11,707,987 shares issued and outstanding as of December 31, 2010 and 2009, respectively	<b>3,110</b>	318,588	2,515	257,636	1,364	139,728
Additional paid-in capital	<b>1,019</b>	104,386	690	70,683	448	45,893
Accumulated other comprehensive income (loss)	<b>(34)</b>	(3,482)	1	102	-	-
Accumulated deficit	<b>(18,203)</b>	(1,864,715)	(27,206)	(2,786,982)	(33,998)	(3,482,755)
Total stockholders' equity	<b>14,101</b>	1,444,506	4,209	431,169	(3,977)	(407,403)
Total liabilities and stockholders' equity	<b>34,809</b>	3,565,833	23,638	2,421,476	16,424	1,682,474

*See accompanying notes.*



## Statements of Income

(Amounts in Thousands)  
Unaudited

	Year Ended December 31					
	2010		2009		2008	
	US\$	JPY	US\$	JPY	US\$	JPY
Revenue	36,457	3,734,655	27,019	2,767,826	6,913	708,167
Expenses:						
Research and development	25,297	2,591,424	18,274	1,871,988	10,266	1,051,649
General and administrative	6,632	679,382	6,395	655,103	3,819	391,218
Total expenses	31,929	3,270,806	24,669	2,527,092	14,085	1,442,867
Income from operations	4,528	463,848	2,350	240,734	(7,172)	(734,699)
Other income (expense):						
Interest income	67	6,863	15	1,536	250	25,610
Interest expense	(122)	(12,497)	(183)	(18,746)	(170)	(17,414)
Other income (expense), net	64	6,556	(84)	(8,604)	90	9,219
Total other income (expense), net	9	921	(252)	(25,814)	170	17,414
Income before income tax	4,537	464,770	2,098	214,919	(7,002)	(717,284)
Income tax benefit	4,466	457,497	15	1,536	-	-
Net income	9,003	922,267	2,113	216,455	(7,002)	(717,284)

See accompanying notes.

## Statements of Stockholders' Equity

Years Ended December 31, 2010 and 2009  
(Amounts in Thousands, Except Share Data)

Unaudited

	Convertible Preferred Stock						Common Stock			Additional Paid-in Capital	Accumulated Other Comprehensive Income (Loss)	Accumulated Deficit	Total
	Series A		Series B		Series C		Shares	Amount	Amount				
Balance at December 31, 2008	2,734,334	2,051	17,899,998	13,387	11,807,272	12,771	10,984,147	1,364	448	(33,998)	(407,803)	(3,977)	
Effect of Adoption of Accounting Standard Update 2009-13	(2,10,104)	(-)	(1,371,364)	(-)	(1,308,261)	(-)	(139,728)	(45,893)	(-)	(33,998)	(4,679)	(407,803)	
Stock-based compensation	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	212	(-)	(-)	212	
Common stock issued in connection with stock option exercises	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	141,300	64	(21,717)	(-)	(-)	(21,717)	
Common stock issued in connection with the May 4, 2007 restricted stock purchase agreement	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	446,440	(6,566)	30	(-)	(-)	(6,566)	
Common stock issued in connection with the August 27, 2009 restricted stock purchase agreement	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(66,278)	(3,073)	(-)	(-)	(-)	(69,351)	
Comprehensive income:	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	136,100	440	(-)	(-)	(-)	440	
Net income	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(45,073)	(-)	(-)	(-)	(45,073)	
Unrealized gain on marketable securities available for sale	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	
Total comprehensive income	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	
Balance at December 31, 2009	2,734,334	2,051	17,899,998	13,387	11,807,272	12,771	11,707,987	2,515	690	(27,206)	(4,209)	(2,114)	
Stock-based compensation	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(257,636)	(70,683)	(102)	(2,786,982)	(431,169)	(3,299)	
Common stock issued in connection with stock option exercises	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	80,000	45	(33,702)	(-)	(-)	(33,702)	
Common stock issued in connection with the May 28, 2010 restricted stock purchase agreement	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	106,000	550	(-)	(-)	(-)	(4,699)	
Comprehensive income:	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(56,342)	(-)	(-)	(-)	(-)	(56,342)	
Net income	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	
Unrealized loss on marketable securities available for sale	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	
Total comprehensive income	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	(-)	
Balance at December 31, 2010	2,734,334	2,051	17,899,998	13,387	11,807,272	12,771	11,893,987	3,110	1,019	(18,203)	(14,101)	(1,444,506)	
	(210,104)	(-)	(1,371,364)	(-)	(1,308,261)	(-)	(318,588)	(104,386)	(3,482)	(1,854,715)	(1,444,506)	(1,444,506)	

See accompanying notes.

## Statements of Cash Flows

(Amounts in Thousands)  
Unaudited

	Year Ended December 31					
	2010		2009		2008	
	US\$	JPY	US\$	JPY	US\$	JPY
<b>Cash flows from operating activities</b>						
Net income	9,003	922,267	2,113	216,455	(7,002)	(717,284)
Adjustments to reconcile net income to net cash provided by operating activities:						
Depreciation and amortization	697	71,400	582	59,620	497	50,912
Amortization of deferred financing costs	17	1,741	31	3,175	36	3,687
(Gain) loss from the disposal of fixed assets	(7)	(717)	84	8,604	(13)	(1,331)
Stock-based compensation	879	90,044	1,329	136,142	1,486	152,225
Amortization of premium/discount on marketable securities	41	4,200	17	1,741	(169)	(17,312)
Changes in operating assets and liabilities:						
Accounts receivable	(256)	(26,224)	(292)	(29,912)	(6,424)	(658,074)
Prepaid expenses and other current assets	(813)	(83,283)	(139)	(14,239)	(16)	(1,639)
Accounts payable	(1,449)	(148,435)	2,595	265,831	72	7,375
Accrued liabilities	2,807	287,549	(32)	(3,278)	(496)	(50,810)
Deferred tax asset	(4,466)	(457,497)	-	-	-	-
Accrued compensation	(410)	(42,000)	633	64,844	-	-
Deferred rent and lease incentives	489	50,093	(136)	(13,931)	-	-
Deferred revenue	(158)	(16,185)	715	73,244	6,679	684,196
Security deposit	(469)	(48,044)	-	-	(91)	(9,322)
Net cash provided by operating activities	5,905	604,908	7,500	768,300	(5,441)	(557,376)
<b>Cash flows from investing activities</b>						
Purchases of marketable securities available for sale	(15,094)	(1,546,229)	(3,824)	(391,730)	(2,520)	(258,148)
Maturities of marketable securities available for sale	12,482	1,278,656	750	76,830	13,300	1,362,452
Proceeds from the sale of property and equipment	11	1,126	15	1,536	107	10,961
Additions to property and equipment	(1,411)	(144,542)	(590)	(60,439)	(177)	(18,131)
Net cash used in investing activities	(4,012)	(410,989)	(3,649)	(373,803)	10,710	1,097,132
<b>Cash flows from financing activities</b>						
Proceeds from issuance of common stock	45	4,609	64	6,556	1	102
Repayment of capital lease obligations	-	-	(69)	(7,068)	(88)	(9,014)
Net cash provided by (used in) financing activities	45	4,609	(5)	(512)	(87)	(8,912)
Increase in cash and cash equivalents	1,938	198,528	3,846	393,984	5,182	530,844
Cash and cash equivalents - beginning of year	12,059	1,235,323	8,213	841,339	3,031	310,495
Cash and cash equivalents - end of year	13,997	1,433,852	12,059	1,235,323	8,213	841,339
<b>Supplemental disclosure</b>						
Cash paid for interest	200	20,488	145	14,853	-	-

See accompanying notes

## 1. Summary of Business and Significant Accounting Policies

### Overview

Acucela Inc. (the Company) is a clinical-stage specialty pharmaceutical company focused on leveraging promising science in visual cycle modulation (VCM) to develop new methods for treating blinding eye diseases that affect tens of millions of people worldwide. The Company's orally delivered VCM compounds, which selectively target cells within the retina to protect visual acuity, have the potential to be used to treat several devastating eye diseases, including dry age-related macular degeneration (dry AMD), for which there is currently no treatment options for patients, diabetic retinopathy, retinopathy of prematurity and Stargardt disease. The Company was founded in 2002 by Ryo Kubota, M.D., Ph.D., the chairman, chief executive officer and president, who is a pioneer in the ophthalmology field and the discoverer of the gene that causes glaucoma.

In 2010, the Company and Otsuka Pharmaceutical Co., Ltd. (Otsuka) entered into a definitive agreement to co-develop OPA-6566, Otsuka's compound for the treatment of glaucoma. OPA-6566 is currently in preclinical development.

In 2010, the Company received Fast Track designation from the U.S. Food and Drug Administration (FDA) for ACU-4429, an investigational oral treatment for dry AMD.

In 2008, the Company and Otsuka, entered into a definitive agreement to co-develop ACU-4429, the Company's lead compound for dry AMD. ACU-4429 is currently in Phase II clinical development in the United States.

In 2008, the Company and Otsuka also entered into a definitive agreement to co-develop Rebamipide ophthalmic suspension (Rebamipide), Otsuka's product candidate for the treatment of dry eye. Rebamipide is currently in Phase II clinical development in the United States.

### Changes in Accounting Policy for the Adoption of Accounting Standards Update 2009-13

In October 2009, the Financial Accounting Standards Board (FASB) issued Accounting Standards Update (ASU) 2009-13, *Multiple-Deliverable Revenue Arrangements*, which modifies the accounting for multiple-element arrangements pursuant to FASB Accounting Standards Codification (ASC) 605-25, *Multiple Element Arrangements*. ASU 2009-13 is effective on a prospective basis for revenue arrangements entered into or materially modified in fiscal years beginning on or after June 15, 2010. An election to adopt on a retroactive basis is permitted. The Company made such an election and retroactively applied the provisions of ASU 2009-13 to all revenue arrangements since the inception of the Company as the election will provide for better comparability of financial information in future periods. The effect on the Company's financial statements as a result of changing its accounting policy was to reduce the accumulated deficit as of January 1, 2009, by \$4,679,000.

### Use of Estimates

The preparation of financial statements in conformity with accounting principles generally accepted in the United States of America (GAAP) requires management to make estimates

and assumptions that affect the amounts reported in the financial statements and accompanying notes. Actual results could differ from these estimates.

#### **Subsequent Events**

The Company evaluated subsequent events and transactions for potential recognition or disclosure in the financial statements through June 21, 2011, the day the financial statements were available for issuance.

#### **Cash and Cash Equivalents**

Cash and cash equivalents include all short-term, highly liquid investments with an original maturity of three months or less at the date of purchase. Cash equivalents consist of money market funds, municipal bonds, commercial paper, and corporate debt securities as of December 31, 2010 and 2009.

#### **Investments**

As of December 31, 2010 and 2009, investments are composed of commercial paper, corporate debt securities, municipal bonds, certificates of deposit, and asset-backed securities. Investments with maturities between three months and one year at the date of purchase are classified as short-term investments. The Company considers its investments as available-for-sale. Available-for-sale securities are stated at fair value as of each balance sheet date based on market quotes, and unrealized gains and losses are reflected as a net amount under the caption of accumulated other comprehensive income (loss).

The Company periodically evaluates whether declines in fair values of its investments below their cost are other-than-temporary. This evaluation consists of several qualitative and quantitative factors regarding the severity and duration of the unrealized loss as well as whether it is more likely than not the Company will hold the investment until recovery of its amortized cost basis. Realized gains and losses and declines in value judged to be other-than-temporary are recorded within the statements of income under the caption other income (expense).

#### **Accounts Receivable**

The Company's accounts receivable as of December 31, 2010 and 2009, consist of amounts due from Otsuka. There was no allowance for doubtful accounts as of December 31, 2010 and 2009, as management believes all outstanding amounts will be paid based on its contractual arrangement with Otsuka and history of successful collections.

#### **Property and Equipment**

Property and equipment are recorded at cost, less accumulated depreciation. The Company provides for depreciation of equipment on a straight-line basis over estimated useful lives of five years. Leasehold improvements are stated at cost and amortized on a straight-line basis over the shorter of the lease term or estimated useful life of the assets.

Expenditures for maintenance and repairs are expensed as incurred.

Long-lived assets held for use are subject to an impairment assessment whenever events or changes in circumstances indicate that the carrying amount may not be recoverable. If the carrying value is no longer recoverable based upon the undiscounted future cash flows of the asset, the amount of the impairment is the difference between the carrying amount and the fair value of the asset. The Company has recorded no impairment charges for the years ended December 31, 2010 and 2009.

### **Revenue Recognition**

The Company's business strategy includes entering into collaborative agreements with pharmaceutical companies for the development and commercialization of the Company's product candidates. The terms of the agreements may include nonrefundable license fees, funding of research and development activities, payments based upon achievement of development milestones, payments based upon achievement of revenue milestones, and royalties on product sales. The Company recognizes revenue when four basic criteria have been met: (a) persuasive evidence of an arrangement exists; (b) delivery has occurred or services rendered; (c) the fee is fixed or determinable; and (d) collectability is reasonably assured.

#### *Multiple Element Arrangements*

The Company's collaborative agreements are multiple element arrangements that must be analyzed to identify the deliverables included in the agreements and determine if the deliverables qualify as separate units of accounting. Deliverables are considered a separate unit of accounting when all of the following criteria are met: (i) the delivered item has value to the customer on a standalone basis and (ii) if the arrangement includes a general right of return relative to the delivered item, and the delivery or performance of the undelivered item is considered probable and substantially in the Company's control. There are no rights of return in the Company's collaborative agreements.

Arrangement consideration is allocated to the separate units of accounting based on their relative selling price. The Company follows a hierarchy to determine the selling price for each unit of accounting, determining first if there is vendor-specific objective evidence (VSOE) of fair value (the price at which the goods or services are regularly sold by the Company on a standalone basis). If VSOE of fair value is not available, third-party evidence (TPE) of vendors selling similar goods or services to similarly situated customers on a standalone basis is used to establish fair value. If neither VSOE nor TPE of fair value exists, the Company uses its best estimate of the selling price for that unit of accounting. The Company's best estimate of selling price represents the price at which the Company would transact if the unit of accounting were sold by the Company regularly on a standalone basis.

The Company considers market conditions and entity-specific factors when estimating the selling price. Once the selling price for each unit of accounting has been established, the consideration received is allocated among the units of accounting based on their relative selling price, and the applicable revenue recognition criteria are applied to each of the separate units. The amount of arrangement consideration allocable to a delivered item that is a separate unit of accounting is limited to arrangement consideration that is fixed or determinable. Payments that are contingent upon the occurrence of future events that are not exclusively within the control of the Company are excluded from the allocable arrangement consideration until the contingency is resolved.

When the Company has continuing performance obligations, revenue is recognized using one of two methods. Where the Company is able to estimate the total amount of services under a unit of accounting and such performance obligations are provided on a best-efforts basis, revenue is recognized using a proportional performance model. Costs incurred to date compared to total expected costs are used to determine proportional performance, as this is considered to be representative of the delivery of outputs. Changes in estimates of total expected costs are accounted for prospectively as a change in estimates. When the Company cannot reasonably estimate the total amount of service that is to be performed but can reasonably estimate when the performance obligation ceases or becomes inconsequential, a time-based method is used to recognize revenue. Under the time-based method, revenue is recognized ratably over the estimated performance period of the unit of accounting, but not before the removal of any contingencies. If the Company cannot reasonably estimate when the Company's performance obligation either ceases or becomes inconsequential and perfunctory, then revenue is deferred until the Company can reasonably estimate when the performance obligation ceases or becomes inconsequential and perfunctory. Revenue is then recognized over the remaining estimated period of performance. Significant management judgment is required in determining the level of effort required and the period over which the Company is expected to complete the Company's performance obligations under each unit of accounting.

#### *Substantive Milestone Payments*

The Company's collaboration agreements contain substantive milestones. A substantive milestone is defined as an event that meets the following conditions: (i) there is substantive uncertainty on the date the arrangement is entered into about whether the event will be achieved; (ii) achievement of the event is based in whole, or in part, on either the Company's performance or a specific outcome resulting from the Company's performance; and (iii) achievement of the event results in additional payment due to the Company. For a milestone to be considered substantive, the payment associated with its achievement must have all of the following characteristics: (i) relate solely to the Company's past performance; (ii) be reasonable, relative to all of the deliverables and payment terms in the arrangement; and (iii) be commensurate with either the Company's effort required to achieve the milestone or the enhanced value of the delivered item(s) as a result of the milestone achievement.

Substantive milestone payments are recognized upon achievement of the milestone only if all of the previous conditions are met and the milestone payments are nonrefundable. Determination as to whether a payment meets the aforementioned conditions involves management's judgment. The Company has evaluated the nature of its arrangements and has elected to make a policy election to apply the milestone method where appropriate for its arrangements.

If any of the aforementioned conditions are not met, the resulting payment would not be considered a substantive milestone, and therefore, the resulting payment would be determined to be part of the allocable arrangement consideration and would be recognized as revenue as such performance obligations are performed under either the proportional performance or time-based methods, as applicable, and in accordance with the policies as described above.

### *Deferred Revenue*

Amounts received prior to satisfying the above revenue recognition criteria are recorded as deferred revenue.

### **Income Taxes**

The Company recognizes deferred tax assets and liabilities for the expected future tax consequences of events that have already been recognized in the financial statements or tax returns. In addition, the Company has not recognized the excess tax benefits associated with certain share-based payments. Deferred tax liabilities and assets are based on the difference between financial statement carrying amounts and the tax basis of assets and liabilities, operating loss, and tax credit carryforwards and are measured using enacted tax rates expected to be in effect in the years the differences or carryforwards are anticipated to be recovered or settled. A valuation allowance is established when the Company believes that it is more likely than not that benefits of the deferred tax assets will not be realized.

### **Stock-Based Compensation**

Stock-based compensation expense is measured at the grant date based on the estimated fair value of the equity award and is recognized as expense, less estimated forfeitures, over the requisite service period, which is generally the vesting period. Equity awards generally vest and become exercisable over a four-year period, with 25% vesting after one year and 1/48 vesting each month thereafter. The fair value of each equity award is estimated on the date of grant using the Black-Scholes option-pricing model. The Company recognizes stock-based compensation expense on a straight-line method. Determining the fair value of stock-based awards at the grant date requires judgment, including estimating the expected volatility of its stock, expected term, risk-free interest rate, and expected dividends.

### *Expected Term*

The Company's expected term used in the option-pricing model represents the period that the Company's stock-based awards are expected to be outstanding and is determined based on the simplified method as identified in ASC 718. The simplified method uses a simple average of the vesting and original contractual terms of the option. We have continued to use the simplified method to determine the expected option term since our stock option exercise experience does not provide a reasonable basis upon which to estimate the expected option term.

### *Expected Volatility*

The Company's volatility factor is estimated using comparable public company stock volatility.

### *Expected Dividend*

The Company has never paid cash dividends and has no present intention to pay cash dividends in the future, and as a result, the expected dividend is zero.



*Risk-Free Interest Rate*

The Company bases the risk-free interest rate used in the Black-Scholes valuation model on the implied yield currently available on U.S. Treasury zero-coupon issues with an equivalent term. Where the expected term of the Company's stock-based awards does not correspond with the term for which an interest rate is quoted, the Company performs a straight-line interpolation to determine the rate from the available term maturities.

The fair value of stock options granted for the years ended December 31, 2010 and 2009, was calculated using the Black-Scholes option-pricing model and applied the following assumptions:

	2010	2009
Risk-free interest rates	2.3%–2.8%	2.1%–3.8%
Expected life	6.3 years	6.3–9.7 years
Dividend yield	–%	–%
Expected volatility	60%–65%	60%–67%

**Research and Development Costs**

Research and development costs include salaries, fees paid to external service providers and contract research organizations to conduct research and development activities, laboratory supplies, license fees, consulting fees, and travel. Research and development costs are expensed as incurred. Certain indirect expenses are allocated between research and development and general and administrative expenses based on a reasonable allocation method.

**Patent and Legal Costs**

Costs relating to filing, pursuing, and defending patent applications are expensed as incurred to general and administrative costs. Other legal costs are expensed as incurred to general and administrative costs.

**Accounting for Derivative Instruments**

The Company accounts for derivative instruments in accordance with ASC 815, *Derivatives and Hedging*, which establishes accounting and reporting standards for derivative instruments and hedging activities, including certain derivative instruments embedded in other financial instruments or contracts. The Company also considers ASC 815, which provides criteria for determining whether freestanding contracts that are settled in a company's own stock, should be designated as an equity instrument, an asset or as a liability under ASC 815.

The Company evaluated the conversion feature embedded in its series A, B and C convertible preferred stock based on the criteria of ASC 815 to determine whether the conversion feature would be required to be bifurcated from the preferred stock and accounted for separately as a derivative. Based on management's evaluation, the embedded conversion feature does not require bifurcation and derivative accounting.

The Company evaluated the conversion features embedded in its convertible notes based on the criteria of ASC 815 to determine whether the conversion features would be required to be

bifurcated from the note payable and accounted for separately as derivatives. Based on management's evaluation, the embedded conversion feature requires bifurcation and derivative accounting; however, the fair value of the derivative since inception is immaterial.

### Reclassifications

Certain prior period balances have been reclassified in order to conform to the current period presentation.

### 2. Concentration of Risk

During 2010 and 2009, all of the Company's revenues were derived from the collaboration agreements with Otsuka.

### 3. Collaboration and License Agreements

#### *ACU-4429 Collaboration*

In 2008, the Company and Otsuka entered into a definitive agreement to co-develop and commercialize ACU-4429 for the dry form of AMD and for other potential indications in the United States, Canada, and Mexico (Shared Territory). The Company retained all rights in Europe, South America, Central America, the Caribbean, and Africa (Acucela Territory), and Otsuka owns the exclusive development and commercialization rights to the compound in Asia, the Middle East, and selected markets in the rest of the world (Otsuka Territory). A \$5,000,000 nonrefundable up-front license fee was paid by Otsuka upon signing.

Under the agreement, Otsuka will fund all development activities in the Shared Territory through Phase II, up to \$40,000,000. If the Phase II development costs exceed \$40,000,000, Otsuka may, at its sole discretion, either (i) terminate the agreement or (ii) continue the agreement and share equally with the Company all Phase II development costs in excess of \$40,000,000. Phase III costs are to be shared equally. In addition, the Company has the potential to receive development milestones totaling \$82,500,000. The co-development portion of the agreement is governed by a Joint Development Committee (JDC).

Otsuka will fund the Company's share of the Phase III development costs as well as any Phase II development costs for which the Company is responsible in the form of a secured promissory note. The promissory note provides that (a) interest will accrue daily and be calculated on the basis of 360 days per year and be payable on all amounts advanced to the Company from the date of advance until paid in full; (b) unpaid interest will compound annually; (c) the applicable interest rate will be adjusted quarterly to reflect the then-effective rate equal to the three-month London InterBank Offered Rate (LIBOR) in the "Money Rates" column of *The Wall Street Journal* as of the first business day of each calendar quarter, plus 3%; and (d) all amounts are payable in United States dollars.

The loan is repayable only in the event that future proceeds are generated by the products under the collaboration.

The agreement includes a security interest agreement that grants Otsuka a first priority interest on the Company's entire interests in net profits and royalty payments, and on the Company's entire interests in ownership of the related collaboration compounds and

collaboration products and the underlying intellectual property rights, both in the Shared Territory and the Acucela Territory.

As the agreement contains elements of funded development, the Company evaluated the agreement under ASC 730-20, *Research and Development Arrangements*, to determine if the Company's obligation to Otsuka should be accounted for as a liability to repay a loan or as an obligation to perform contractual services. To conclude that a liability to repay a loan does not exist, the transfer of the financial risk involved with research and development from the Company to Otsuka must be substantive and genuine. The Company determined that its obligation to Otsuka should be accounted for as an obligation to perform contractual services because repayment depends solely on the results of development having future economic benefit.

Upon commercialization, the parties may co-promote the product in the Shared Territory and equally share all expenses and profits from sales of the product in the Shared Territory. The Company may exercise its option to co-promote in the Shared Territory on a country-by-country basis. If the Company does not elect to co-promote in a country or countries in the Shared Territory, Otsuka shall pay the Company royalties on the annual, aggregate net sales of collaboration products in the country or countries in the Shared Territory for which the Company did not elect to participate in co-promotion. Each party shall pay the other party a royalty of 2% on annual, aggregate net sales of collaboration products in their sole territories. In addition, the Company has the potential to receive net sales milestones totaling \$175,000,000. The co-promotion arrangement is governed by a Joint Commercialization Committee (JCC).

The agreement also includes a three-year research program (the Research Program), the purpose of which is to identify a second indication for the lead collaborative compound and to conduct development on a backup compound for the collaborative compound. During the three-year period, Otsuka will pay the Company \$5,000,000 per year, payable on a quarterly basis. The agreement also provides Otsuka with a right of first negotiation to license new compounds discovered or developed by the Company (independent of the collaboration activities) during the agreement term.

The Company's agreement with Otsuka is a multiple element arrangement and the Company has determined that the elements within the arrangement consist of the license, the research program, development, and co-promotion.

The license granted to Otsuka was determined to be a separate unit of accounting because it has value to Otsuka on a standalone basis.

Because Otsuka may license and develop the intellectual property independent of the development or research program services that are to be provided by the Company, the Company conducted a net present value (NPV) valuation of the license and it was determined that the estimated standalone selling price for the license at inception of the agreement exceeded the arrangement consideration received for the license fee. Since the value assigned to a delivered element cannot exceed the arrangement consideration, the arrangement consideration of \$5,000,000 was assigned to the license.

The activities associated with development meet the criterion for a separate unit of accounting since these services have value to Otsuka on a standalone basis. The Company

has determined that the fees charged for the development services are competitive with the price other third-party vendors charge for similar development services. Revenue from development efforts is recognized as services are performed. In 2010 and 2009, the Company recognized \$15,580,000 and \$14,484,000, respectively, of revenue associated with development activities.

The activities associated with the research program meet the criterion for a separate unit of accounting since these services have value to Otsuka on a standalone basis. The types of services contemplated under the research program may be performed by a third party. The Company has determined that the fees charged for the research services are competitive with the price other third-party vendors charge for similar research services. TPE of the selling price for the research program is \$15,000,000, which equals the agreement consideration. Revenue from the research activities is recognized under a proportional performance model. In 2010 and 2009, the Company recognized \$5,158,000 and \$4,285,000, respectively, of revenue associated with research activities. As of December 31, 2010 and 2009, \$557,000 and \$715,000, respectively, remains as deferred revenue associated with research activities.

The development and net sales milestones in the arrangement were evaluated and determined to meet the criteria of a milestone under ASU 2010-17. The Company recognizes consideration that is contingent upon achievement of a substantive milestone in its entirety in the period in which the milestone is achieved. No development or net sales milestones were achieved during the years ended December 31, 2010 or 2009.

#### *Rebamipide Collaboration*

In 2008, the Company and Otsuka entered into a definitive agreement to co-develop Rebamipide, Otsuka's proprietary compound for the treatment of dry eye. Under the agreement, the parties will collaborate in the clinical development efforts for Rebamipide in the United States. Otsuka paid the Company a \$2,000,000 up-front payment, and the Company has the potential to receive clinical development milestones totaling \$30,000,000, and royalties on net sales of the product in the United States and the European Union. Under the agreement, Otsuka shall be responsible for all clinical development and commercialization expenses. Upon regulatory filing, the parties may negotiate the terms under which the Company may co-promote Rebamipide with Otsuka in the United States.

The Company evaluated the agreement and determined that the clinical development represented the only deliverable under the arrangement. Revenue from clinical development efforts is recognized as services are performed. During 2010 and 2009, the Company recognized \$15,067,000 and \$8,250,000, respectively, of revenue associated with the Rebamipide clinical development activities. The development milestones in the agreement were evaluated and determined to meet the criteria of a milestone under ASU 2010-17. The Company recognizes consideration that is contingent upon achievement of a substantive milestone in its entirety in the period in which the milestone is achieved. No development milestones were achieved during the years ended December 31, 2010 or 2009.

The \$2,000,000 up-front payment by Otsuka to the Company is subject to refund upon insolvency, material breach or upon the termination of Dr. Kubota's services to the Company. Due to the refund provisions in the agreement, the Company classified the \$2,000,000 payment as deferred revenue at December 31, 2010 and 2009. When the appropriate refund provisions are satisfied, the Company will recognize the payment as revenue.

*OPA-6566 Collaboration*

In 2010, the Company and Otsuka entered into a definitive agreement to develop OPA-6566, Otsuka's proprietary compound for the treatment of glaucoma. The agreement grants the Company an opt-in right to co-develop and co-promote OPA-6566 in the United States. Until the Company exercises its opt-in right, Otsuka will have sole responsibility for development activities and costs. Upon exercise of the opt-in right, Otsuka grants the Company additional opt-in rights which include: (1) the right to co-develop and co-promote OPA-6566 for ophthalmological indications in the United States other than for glaucoma; (2) the right to co-develop and co-promote new formulations of OPA-6566 for glaucoma in the United States; and (3) a right of first negotiation to co-develop and co-promote other adenosine A2a receptor agonist compounds for the treatment of ophthalmologic diseases in the United States.

The Company evaluated the agreement and determined that the development represented the only deliverable under the arrangement. Revenue from development efforts is recognized as services are performed. During 2010, the Company recognized \$652,000 of revenue in performance of the agreement.

**4. Short-Term Investments and Cash Equivalents**

Short-term investments and cash equivalents as of December 31, 2010 and 2009, consisted of the following (in thousands):

	December 31, 2010			
	Amortization Cost	Gross Unrealized Holding Gains	Gross Unrealized Holding Losses	Fair Value
Types of security:				
Commercial paper	\$ 1,301	\$ -	\$ (1)	\$ 1,300
Corporate debt securities	2,805	-	(5)	2,800
Municipal bonds	4,406	-	(28)	4,378
Certificates of deposit	200	-	-	200
Money market fund	1,948	-	-	1,948
	<u>\$ 10,660</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ (34)</u>	<u>\$ 10,626</u>
	December 31, 2009			
	Amortization Cost	Gross Unrealized Holding Gains	Gross Unrealized Holding Losses	Fair Value
Types of security:				
Commercial paper	\$ 3,424	\$ 1	\$ -	\$ 3,425
Corporate debt securities	1,901	-	-	1,901
Asset-backed securities	758	-	-	758
Money market fund	9,246	-	-	9,246
	<u>\$ 15,329</u>	<u>\$ 1</u>	<u>\$ -</u>	<u>\$ 15,330</u>

All investment securities held at December 31, 2010 and 2009, mature within twelve months. The sale of securities is identified using the specific identification method. There are no realized gains or losses for the periods presented.

**5. Fair Value Measurements**

Financial assets are classified and disclosed in one of the following three categories:

*Level 1* – quoted prices in active markets for identical assets and liabilities

*Level 2* – observable inputs other than quoted prices in active markets for identical assets and liabilities

*Level 3* – unobservable inputs in which there is little or no market data available, which require the reporting entity to develop its own assumptions

The Company's financial assets measured at fair value on a recurring basis as of December 31, 2010 and 2009, were as follows (in thousands):

	December 31, 2010			
	Level 1	Level 2	Level 3	Total
Cash equivalents:				
Money market funds	\$ 1,948	\$ –	\$ –	\$ 1,948
Municipal bonds	–	1,030	–	1,030
Commercial paper	–	250	–	250
Corporate debt securities	–	1,804	–	1,804
	<u>\$ 1,948</u>	<u>\$ 3,084</u>	<u>\$ –</u>	<u>\$ 5,032</u>
Short-term investments:				
Commercial paper	\$ –	\$ 1,050	\$ –	\$ 1,050
Corporate debt securities	–	996	–	996
Municipal bonds	–	3,348	–	3,348
Certificates of deposit	200	–	–	200
	<u>\$ 200</u>	<u>\$ 5,394</u>	<u>\$ –</u>	<u>\$ 5,594</u>

	December 31, 2009			
	Level 1	Level 2	Level 3	Total
Cash equivalents:				
Money market funds	\$ 9,246	\$ –	\$ –	\$ 9,246
Commercial paper	1,225	–	–	1,225
Corporate debt securities	–	1,801	–	1,801
	<u>\$ 10,471</u>	<u>\$ 1,801</u>	<u>\$ –</u>	<u>\$ 12,272</u>
Short-term investments:				
Commercial paper	\$ 2,200	\$ –	\$ –	\$ 2,200
Corporate debt securities	–	100	–	100
Asset-backed securities	–	758	–	758
	<u>\$ 2,200</u>	<u>\$ 858</u>	<u>\$ –</u>	<u>\$ 3,058</u>

The Company's fixed income investment securities are valued using the market approach.

## 6. Property and Equipment

Property and equipment as of December 31, 2010 and 2009, consist of the following (in thousands):

	December 31	
	2010	2009
Laboratory equipment	\$ 2,175	\$ 1,714
Office furniture and equipment	392	107
Leasehold improvements	1,791	1,161
	<u>4,358</u>	<u>2,982</u>
Less accumulated depreciation and amortization	(2,375)	(1,709)
Property and equipment, net	<u>\$ 1,983</u>	<u>\$ 1,273</u>

The depreciation and amortization expense recorded for the years ended December 31, 2010 and 2009, was \$697,000 and \$582,000, respectively.

#### **7. Notes Payable**

On May 29, 2006, the Company completed a private placement of \$12,000,000 aggregate principal amount of unsecured promissory notes, of which \$3,250,000, \$3,250,000, and \$5,500,000 were due on August 31, 2009, June 30, 2010, and November 30, 2012, respectively. The maturity dates of the notes are extended automatically upon extension of the note holders' maturity of their investment funds. The notes bear interest at 1% per annum, payable upon maturity.

On August 31, 2009, the Company renegotiated the terms of the unsecured promissory notes due on August 31, 2009. The original maturity dates were extended for a period of one year to August 31, 2010, and the interest rate for the extended period was increased from 1% per annum to 1.2% per annum. The repayment terms were modified to require immediate payment of all interest from May 29, 2006 to August 31, 2010.

On June 30, 2010, the Company also renegotiated the terms of the unsecured promissory notes due on June 30, 2010. The original maturity dates were extended for a period of one year to June 30, 2011, and the interest rate for the extended period was increased from 1.0% per annum to 1.05% per annum. All interest was paid through the end of the renegotiated term of the note.

On August 31, 2010, the Company renegotiated the terms of the unsecured promissory notes due on August 31, 2010. The maturity dates were extended for a period of one year to August 31, 2011, and the interest rate for the extended period was decreased from 1.2% per annum to 1.02% per annum. All interest was paid through the end of the renegotiated term of the notes.

Notes payable due in one year or less of \$6,500,000 and corresponding prepaid interest expense of \$39,000 have been classified as current maturities of notes payable and prepaid expense, respectively, in the balance sheets. Notes payable due in excess of one year of \$5,500,000 and corresponding interest payable of \$253,000 have been classified as long-term notes payable and long-term interest payable, respectively, in the balance sheets. The Company will be notified within 90 days from the maturity date if the notes will be automatically extended.

The notes payable automatically convert into shares of common stock upon the closing of a firm commitment underwritten public offering at a price of not less than \$3.50 per share and aggregate net proceeds of not less than \$25,000,000. The number of shares issued upon conversion is determined by dividing the principal of the note by \$3.30, which is subject to adjustment for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

#### **7. Notes Payable (continued)**

In the event of a liquidation, dissolution, or winding-up of the Company, the assets and funds of the Company shall be distributed such that the note holders are paid all outstanding



principal and interest under the notes in the same priority as the holders of the Company's preferred stock are paid the liquidation distribution prior and in preference to any distribution to the holders of common stock. If the assets available for distribution among the holders of preferred stock and notes are insufficient to permit the payment to such holders of their respective liquidation preference, then the assets and surplus funds that remain legally available for distribution shall be distributed ratably among the holders of preferred stock and notes in proportion to the preferential amount each holder would otherwise be entitled to receive.

In the event that a sale of the Company or a sale of substantially all of the Company's assets, or upon a certain merger or consolidation transaction, is consummated prior to the maturity date (Sales Transaction), the note holders have the following options:

- The entire unpaid principal amounts of the notes and accrued interest thereon are paid upon the closing of such transaction.
- The notes are redeemed for an amount in cash equal to the amount to which the note holders would have been entitled pursuant to the terms of such transaction, if, instead of the notes, the note holders held a number of shares of common stock as calculated in the same manner as the conversion upon public offering.
- The notes are converted into shares of Series C preferred stock. The number of shares issued upon conversion is determined by dividing the unpaid principal of the notes by the original issue price of the Series C preferred stock of \$1.10.

The Company evaluated the conversion features embedded in the notes payable and based on the criteria of ASC 815 it was determined that the conversion features should be bifurcated from the notes payable and accounted for separately as derivatives. The conversion feature which occurs upon the closing of a firm commitment underwritten public offering was evaluated and it was determined it met certain criteria which eliminated the need for it to be accounted for separately. The conversion feature which occurs if the Company is sold was evaluated and it was determined that this derivative should be accounted for separately because the holder has the option to have the debt settled in cash based on the value of the Company's common stock. This derivative is recorded at its fair value with changes in fair value recognized as other income or expense over the period it is outstanding. The fair value of this derivative since inception has been immaterial.

SBI Holdings, Inc., the holder of the notes and an investor in the Company, received payment for interest on the unsecured promissory notes of \$200,000 and \$145,000 in 2010 and 2009, respectively. Yoshitaka Kitao, a director, is the representative director and chief executive officer of SBI Holdings, Inc.

## **8. Income Taxes**

As of December 31, 2010, the Company had net operating loss carryforwards of \$17,402,000 and research and development tax credit carryforwards of \$1,600,000. The carryforwards are available to offset future tax liabilities. The net operating loss carryforwards will begin to expire from 2023 to 2029 and the research and development tax credits expire from 2022 to 2027. Utilization of net operating losses may be subject to ownership change limitations established by Internal Revenue Code (IRC) Section 382. The annual limitation may result in



the expiration of net operating loss carryforwards before they can be utilized. During the year ended December 31, 2010 as a result of an analysis of the impact of a previous ownership change, the Company reduced its net operating loss carryforwards by \$705,000 (approximately \$240,000 in tax benefits) to reflect limitation of the NOL usage as a result of IRC Section 382.

Deferred tax assets arise from temporary differences between financial and tax reporting. The Company will establish a valuation allowance if either it is more likely than not that the deferred tax asset will expire before the Company is able to realize their benefits, or the future deductibility is uncertain. Periodically, the valuation allowance is reviewed and adjusted based on management's assessments of realizable deferred tax assets. During the year ended December 31, 2010, the Company reduced its valuation allowance because it believes that it is more likely than not that a portion of its deferred tax assets will be realized. A reduction in the valuation allowance of \$4,466,000 is reflected as a reduction to income tax expense. As of December 31, 2009, the Company provided for a full valuation allowance to offset its deferred tax assets due to the uncertainty of realizing the benefits of the deferred tax assets.

Deferred tax assets for the years ended December 31, 2010 and 2009, are as follows (in thousands):

	December 31	
	2010	2009
Deferred tax assets:		
Net operating loss carryforwards	\$ 5,917	\$ 6,268
Research and development tax credit carryforwards	1,600	1,600
Deferred revenue	869	863
Deferred rent	263	175
Property and equipment	171	125
Compensation	112	123
Total	<u>8,932</u>	<u>9,154</u>
Less valuation allowance	<u>(4,466)</u>	<u>(9,154)</u>
Net deferred tax asset	<u>\$ 4,466</u>	<u>\$ -</u>
Reported as:		
Current deferred tax asset	\$ 494	\$ -
Long-term deferred tax asset	3,972	-
Net deferred income tax asset	<u>\$ 4,466</u>	<u>\$ -</u>

The current and long-term components of the 2010 valuation allowance are \$648,000 and \$3,818,000, respectively.

During 2010 and 2009, the Company had taxable income which was offset by the utilization of the net operating loss carryforwards and in 2010 and 2009 the alternative minimum tax was offset by utilizing the research and development tax credits.

The components of the tax provisions are as follows (in thousands):

	Year Ended December 31	
	2010	2009
Current taxes	\$ -	\$ -
Deferred taxes	(4,466)	(15)
Total	<u>\$ (4,466)</u>	<u>\$ (15)</u>

The reconciliation of the statutory federal income tax rate to the Company's effective income tax rate is as follows:

	Year Ended December 31	
	2010	2009
Statutory rate	34.0%	35.0%
Reduction of the valuation allowance	(98.4%)	0.0%
Utilization of loss carryforwards	(37.7%)	(38.2%)
Stock compensation	3.2%	2.3%
Research credits	0.0%	(0.7%)
Other, net	0.6%	1.0%
Effective tax rate	(98.3%)	(0.6%)

The Company files its income tax return in the U.S. federal jurisdiction. The Company is no longer subject to U.S. federal tax examinations by tax authorities for the years before 2007. However, the Internal Revenue Service (IRS) could adjust certain unused tax attributes carried forward from tax years prior to 2007. The Company does not file state income tax returns.

The Company recognizes the tax benefit from an uncertain tax position only if it is more likely than not that the tax position will be sustained on examination by the taxing authorities, based on the technical merits of the position. The tax benefits recognized in the financial statements from such a position are measured based on the largest benefit that has a greater than 50% likelihood of being realized upon ultimate settlement. However, there are no material unrecognized tax benefits as of December 31, 2010 and 2009. Furthermore, the Company does not anticipate any significant changes in its unrecognized tax benefits over the next twelve months.

The Company recognizes interest and penalties related to its liabilities for uncertain tax positions in income tax expense. However, during the years ended December 31, 2010 and 2009, the Company did not have any accrued interest or penalties associated with any unrecognized tax benefits.

## 9. Commitments

### Leases

The Company leases laboratory and corporate office space, and rents equipment under noncancelable operating leases expiring through 2015. The lease agreement for the laboratory facility includes two three-year renewal options, and the lease for the corporate office includes one three-year renewal option. Lease incentives are recognized as a liability and amortized to rent expense over the term of the lease. Minimum rent payments under operating leases are recognized on a straight-line basis over the term of the lease including any periods of free rent and reduced rent.

Future minimum lease payments under noncancelable operating leases (with initial or remaining lease terms in excess of one year) as of December 31, 2010, are as follows (in thousands):

2011	\$	1,107
2012		376

2013	475
2014	469
2015	76
Total minimum lease payments	<u>\$ 2,503</u>

Rent expense was \$997,000 and \$530,000 in 2010 and 2009, respectively.

## 10. Stockholders' Equity

### Common Stock

The Company has 60,000,000 shares of common stock authorized without par value.

### Convertible Preferred Stock

The Company has 52,452,514 shares of preferred stock authorized without par value. The preferred stock is issuable in one or more series, each with such designations, rights, qualifications, limitations, and restrictions as the Board of Directors of the Company may determine at the time of issuance. The Company has designated 2,734,334, 17,899,998, and 31,818,182 shares as Series A, Series B, and Series C preferred stock, respectively, with the following terms:

#### *Conversion*

Each share of Series A and B preferred stock is convertible at any time after issuance at the option of the holder into such number of common stock shares as is determined by dividing \$0.25 by the conversion price in effect at the time of conversion. The original conversion price of \$0.75 will be adjusted for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

Each share of Series C preferred stock is convertible at any time after issuance at the option of the holder into such number of common stock shares as is determined by dividing \$1.10 by the conversion price in effect at the time of conversion. The original conversion price of \$3.30 will be adjusted for any subsequent recapitalizations, stock combinations, stock dividends, or stock splits.

Shares of Series A, B, and C preferred stock automatically convert into shares of common stock upon the closing of a firm commitment underwritten public offering at a price of not less than \$3.50 per share and aggregate net proceeds of not less than \$25,000,000.

#### *Liquidation*

In the event of any liquidation, dissolution, winding-up of the Company, sale of the Company or substantially all of the Company's assets, or upon a certain merger or consolidation transaction, the holders of Series A and B preferred stock will be entitled to receive, prior and in preference to any distribution of any of the assets of the Company to the holders of common stock, the amount of \$0.75 per share plus an amount equal to all declared but unpaid dividends of the Series A and B preferred stock. The holders of Series C preferred stock will be entitled to receive, prior and in preference to any distribution of any of the assets of the

Company to the holders of common stock, the amount of \$1.10 per share, plus an amount equal to all declared but unpaid dividends of the Series C preferred stock.

If the assets available for distribution among the holders of Series A, B, and C preferred stock and promissory notes shall be insufficient to permit the payment to such holders of their respective liquidation preference, then the entire assets and surplus funds then remaining legally available for distribution shall be distributed ratably among the holders of Series A, B, and C preferred stock and promissory notes in proportion to the preferential amount each holder would otherwise be entitled to receive. Upon completion of required preferential distributions, any remaining assets of the Company available for distribution shall be distributed among the holders of common stock.

#### *Dividends*

The holders of Series A, B, and C preferred stock are entitled to receive dividends when and as declared by the Board of Directors, in preference to any declaration or payment of any dividend on the common stock of the Company. Such dividends are not cumulative.

#### *Voting*

Each share of Series A, B, and C preferred stock has one vote for each full share of common stock into which its respective shares of preferred stock could be converted on the record date for the vote. The Company must receive an affirmative vote or written consent from a majority of the preferred Series A, Series B, or Series C stockholders, voting as a separate class, for any change in the number of authorized preferred shares; changes in the preferences, rights, privileges, or powers of the preferred stockholders; or sale, merger or consolidation in which the holders of the Company's capital stock retain less than 50% of the voting power after the transaction.

## **11. Stock Based Compensation**

### *Stock Option Plan*

In 2002, the Board of Directors adopted and approved the 2002 Stock Option and Restricted Stock Plan (the Plan), which provides for the issuance of nonqualified and incentive stock options to employees and consultants to acquire shares of common stock. The Board of Directors has reserved 2,000,000 shares of common stock to be issued in conjunction with the Plan. The term of each option is ten years. Equity awards generally vest and become exercisable over a four-year period, with 25% vesting after one year and 1/48 vesting each month thereafter. The option agreements include restrictions on the sale of shares acquired by the exercise of options.

The Company's stock option activity for the years ended December 31, 2010 and 2009, is summarized as follows:

	Shares Available for Grant	Number of Option Shares Outstanding	Weighted-Average Exercise Price of Option Shares	Options Exercisable
Balance at January 1, 2009	1,402,741	586,767	\$1.10	430,949
Granted	(479,000)	479,000	3.23	
Exercised	-	(141,300)	0.46	

Forfeited	200,471	(200,471)	2.42	
Balance at December 31, 2009	1,124,212	723,996	2.27	316,004
Granted	(238,000)	238,000	4.97	
Exercised	-	(80,000)	0.56	
Forfeited	213,017	(213,017)	2.94	
Balance at December 31, 2010	1,099,229	668,979	3.22	354,015

The weighted-average exercise price of exercisable options at December 31, 2010 and 2009, was \$2.09 and \$1.11, respectively.

The total intrinsic value of stock options exercised during the years ended December 31, 2010 and 2009, was \$339,000 and \$391,000, respectively.

The aggregate intrinsic value of stock options outstanding at December 31, 2010 and 2009, was \$977,000 and \$1,826,000, respectively.

The aggregate intrinsic value of stock options exercisable at December 31, 2010 and 2009, was \$864,000 and \$1,162,000, respectively.

The weighted-average fair value of stock options granted in 2010 and 2009 was \$2.94 and \$2.11, respectively.

Information concerning outstanding and exercisable options at December 31, 2010 and 2009, is summarized as follows:

Exercise Prices	December 31, 2010		
	Number of Option Shares	Weighted-Average Remaining Contractual Life (Years)	Options Exercisable
\$0.12-\$0.62	70,000	3.45	70,000
\$1.45-\$3.23	362,479	4.80	280,286
\$4.52-\$5.19	236,500	9.52	3,729
	668,979	6.33	354,015

Exercise Prices	December 31, 2009		
	Number of Option Shares	Weighted-Average Remaining Contractual Life (Years)	Options Exercisable
\$0.12-\$0.62	171,250	4.85	171,250
\$1.45-\$2.25	128,746	7.49	112,907
\$3.23-\$3.23	424,000	9.36	31,847
	723,996	7.96	316,004

The weighted-average remaining contractual life of exercisable options at December 31, 2010 and 2009, was 3.76 years and 6.21 years, respectively.

As of December 31, 2010 and 2009, there was \$775,000 and \$756,000, respectively, of total unrecognized compensation cost related to nonvested share-based compensation arrangements granted under the Plan. That cost is expected to be recognized over a weighted-average period of 3.1 years. The total fair value of shares vested during the years

ended December 31, 2010 and 2009, was \$338,000 and \$164,000, respectively. The Company currently uses authorized and unissued shares to satisfy share award exercises.

#### *CEO Equity Agreement*

The Company has an employment agreement with Dr. Ryo Kubota. Until the initial public offering of its common stock, the Company is obligated pursuant to the employment agreement to grant stock options or allow Dr. Kubota to purchase restricted shares of common stock as often as necessary to maintain Dr. Kubota's equity position in the Company equal to at least 51% of the Company's issued and outstanding voting common stock on an as-converted basis. The shares under these awards are subject to repurchase provisions which lapse quarterly over thirty-six months from the date of grant. Outstanding options and convertible securities are not included in the calculation of Dr. Kubota's equity position unless the options are exercised or the convertible securities are converted into the capital stock of the Company. The purchase price of each stock grant may be made by an interest bearing full recourse promissory note. Per the terms of the employment agreement, the Company is obligated to periodically pay Dr. Kubota cash bonuses consisting of principal and interest amounts due under such promissory notes and additional taxes incurred by Dr. Kubota as a result of receiving such bonuses, if any.

The Company accounts for this arrangement in accordance with ASC 718, Share Based Payments. The employment agreement provides equity awards to Dr. Kubota subject to service and performance conditions. The grant and measurement date is the date at which the Board of Directors approves the grant of the options or sale of the restricted stock to Dr. Kubota. The fair value of the award is established as the current fair value of the Company's common stock. Compensation expense related to this arrangement is included in general and administrative expense.

On May 4, 2007, in connection with the offering of the Series C preferred stock, the Company entered into a restricted stock purchase agreement with Dr. Kubota for the issuance of 1,339,320 shares of the Company's common stock in exchange for a three-year promissory note in the amount of \$1,942,000. The promissory note was secured by the common shares and the Company has full recourse against the issuer. Interest accrues on the note at a rate of 4.9% compounded annually. In 2009, the Company recorded \$1,081,000 in compensation expense related to this award, which included interest of \$31,000. There are no remaining amounts due at December 31, 2009, under the promissory note.

On August 27, 2009, in connection with stock option exercises, the Company entered into a restricted stock purchase agreement with Dr. Kubota for the issuance of 136,100 shares of the Company's common stock in exchange for a three-year promissory note in the amount of \$440,000. Concurrent with the execution of the agreements, the Company paid a bonus to Dr. Kubota, which was used to pay the promissory note. In 2009, the Company recorded \$702,000 in compensation expense related to this award.

On May 28, 2010, in connection with stock option exercises, the Company entered into a restricted stock purchase agreement with Dr. Kubota for the issuance of 106,000 shares of the Company's common stock in exchange for a three-year promissory note in the amount of \$550,000. Concurrent with the execution of the agreement, the Company paid a bonus to Dr. Kubota, which was in turn used to repay the promissory note. The Company recorded approximately \$717,000 in compensation expense in connection with the award.

**12. 401(k) Retirement Plan**

The Company sponsors an employee retirement plan under Section 401(k) of the Internal Revenue Code of 1986, as amended. All employees who meet minimum eligibility requirements are eligible to participate in the plan. To date, the Company has not matched employee contributions made to the plan.

**13. Related-Party Transactions**

Peter Kresel, M.B.A., a director, received payment from the Company for consulting services and reimbursement of direct expenses. Mr. Kresel's payments for consulting services and expense reimbursements were \$218,000 and \$216,000, respectively, during 2010 and 2009.

[前へ](#)



## 第2【有価証券の様式】

See Restrictions on Reverse Side

Certificate Number:	<b>COMMON STOCK</b>	No. of Shares:
-Specimen-		-0-

**ACUCELA INC.**  
Organized Under the Laws of the  
State of Washington

This certifies [NAME] is the holder of [AMOUNT WRITTEN OUT (\_\_\_)] shares of the **Common Stock**, no par value, of this corporation. This certificate and the shares it represents are registered and transferable only on the stock transfer books of the corporation pursuant to authorization or document of transfer made by the holder of this certificate or the legal representative or attorney-in-fact of the holder.

Issued as of the \_\_\_ day of \_\_\_\_\_, 20\_\_.

\_\_\_\_\_  
Secretary

\_\_\_\_\_  
President

50615-0006/DOC/14935121



THE SECURITIES REPRESENTED BY THIS CERTIFICATE HAVE NOT BEEN REGISTERED UNDER THE SECURITIES ACT OF 1933, AS AMENDED. THESE SECURITIES HAVE BEEN ACQUIRED FOR INVESTMENT AND NOT WITH A VIEW TO DISTRIBUTION OR RESALE, AND MAY NOT BE TRANSFERRED WITHOUT AN EFFECTIVE REGISTRATION STATEMENT FOR SUCH SHARES UNDER THE SECURITIES ACT OF 1933, AS AMENDED, OR PURSUANT TO RULE 144 UNDER THE ACT OR AN OPINION OF COUNSEL SATISFACTORY TO THE COMPANY THAT REGISTRATION IS NOT REQUIRED UNDER SUCH ACT.

THIS CERTIFICATE EVIDENCES SHARES OF THE COMMON STOCK OF THE CORPORATION. OTHER CLASSES OF SHARES OF THE CORPORATION ARE OR MAY IN THE FUTURE BE AUTHORIZED, AND THOSE CLASSES MAY CONSIST OF ONE OR MORE SERIES OF SHARES, EACH WITH DIFFERENT RIGHTS, PREFERENCES AND LIMITATIONS. THE CORPORATION WILL FURNISH ANY STOCKHOLDER, UPON REQUEST AND WITHOUT CHARGE, A FULL STATEMENT OF THE POWERS, DESIGNATIONS, PREFERENCES AND RELATIVE PARTICIPATING, OPTIONAL OR OTHER SPECIAL RIGHTS OF EACH CLASS OF STOCK OR SERIES THEREOF AND THE QUALIFICATIONS, LIMITATIONS OR RESTRICTIONS OF SUCH PREFERENCES AND/OR RIGHTS.

The following abbreviations, when used in the inscription on the face of this certificate, shall be construed as though they were written out in full according to applicable laws or regulations

TEN COM -	as tenants in common	UNIF GIFT MIN ACT -	
TEN ENT -	as tenants by the entireties	...Custodian ...	
JT TEN -	as joint tenants with right of survivorship and not as tenants in common	(Cust)            (Minor)	
		under Uniform Gifts to Minors Act .....	
		(State)	

26613/00600/DOCS/1893008.1

( 翻訳 )  
( 表面 )

裏面の制限をご参照ください。

証書番号： -見本-	<b>普通株式</b>	株式数： -0-
( ワシントン州法に基づき設立された ) <b>ACUCELA INC.</b>		
<p>本証書は、[氏名]が、当社の無額面普通株式[数]株の保有者であることを証明するものであります。本証書および本書が表章する株式は登録されており、本証書の保有者または保有者の法定代理人もしくは代理人による承認またはそれらにより作成された譲渡文書に基づき、当社の株式名義書替簿においてのみ譲渡可能です。</p>		
20[ ]年[ ]月[ ]日発行		
署名		署名
秘書役		社長

26613/00600/DOCS/1893012.1

( 裏面 )

本証書により表章される有価証券は、1933年連邦証券法（改正済）に基づく登録はなされておられません。これらの有価証券は、投資のために取得され、分配または転売を目的とするものではなく、1933年連邦証券法（改正済）に基づくかかる株式のための有効な登録届出がある場合を除き、または同法に基づくルール144に基づき、もしくは同法に基づく当社による登録が不要である主旨の当社が満足する専門家の意見書がある場合を除き、譲渡されてはなりません。

本証書は、当社の普通株式を証明するものです。当社のその他の種類の株式は、授権されているかまたは将来授権される可能性があり、それらの種類は、それぞれ異なる権利、優先権および制限を有する1以上のシリーズの株式で構成される可能性があります。当社は、各種類の株式またはそれらのシリーズの権限、名称、優先権および関連する参加権、選択的権利またはその他の特別な権利ならびにかかる優先権および/または権利の条件、制限または制約に関してすべて記載した書面を、請求に応じて、株主に対して無償で提供します。

下記の略語は、本証書の表面における記載に用いられる場合、適用ある法令に従いあたかも完全に記載されているものと解釈されます。

TEN COM -	共同所有者	UNIF GIFT MIN ACT -  ...証券保管機関...  ( 財産管理人 )      ( 未成年者 )  未成年者への財産移転に関する統一州法に基づく.....  ( 州 )
TEN ENT -	連帯所有者	
JT TEN -	生存者権付共同所有者 ( 普通の共同所有者ではありません )	

26613/00600/1893008.1

### 第3【保証会社及び連動子会社の最近の財務諸表又は財務書類】

該当事項はありません。

**Consent of Independent Registered Public Accounting Firm**

We consent to the use of our report dated May 23, 2013, except for note 16, as to which the date is November 7, 2013 in the Securities Registration Statements of Acucela Inc. for the registration of its common stock.

Ernst & Young LLP  
Seattle, WA United States of America  
December 27, 2013

[次へ](#)

( 翻訳 )

**独立登録会計事務所の同意書**

我々は、Acucela Inc.の普通株式の届出のための有価証券届出書に記載される、11月7日付の注記16を除いた2013年5月23日付の我々の監査報告書の使用に同意します。

アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピー  
米国、ワシントン州、シアトル市  
2013年12月27日

[次へ](#)

**REPORT OF INDEPENDENT REGISTERED PUBLIC ACCOUNTING FIRM**

The Board of Directors and Shareholders of Acucela Inc.

We have audited the accompanying balance sheets of Acucela Inc. as of December 31, 2012 and 2011, and the related statements of income, comprehensive income, shareholders' equity and cash flows for the years then ended. These financial statements are the responsibility of the Company's management. Our responsibility is to express an opinion on these financial statements based on our audits.

We conducted our audits in accordance with the standards of the Public Company Accounting Oversight Board (United States). Those standards require that we plan and perform the audit to obtain reasonable assurance about whether the financial statements are free of material misstatement. We were not engaged to perform an audit of the Company's internal control over financial reporting. Our audits included consideration of internal control over financial reporting as a basis for designing audit procedures that are appropriate in the circumstances, but not for the purpose of expressing an opinion on the effectiveness of the Company's internal control over financial reporting. Accordingly, we express no such opinion. An audit also includes examining, on a test basis, evidence supporting the amounts and disclosures in the financial statements, assessing the accounting principles used and significant estimates made by management, and evaluating the overall financial statement presentation. We believe that our audits provide a reasonable basis for our opinion.

In our opinion, the financial statements referred to above present fairly, in all material respects, the financial position of Acucela Inc. at December 31, 2012 and 2011, and the results of its operations and its cash flows for each of the years then ended in conformity with U.S. generally accepted accounting principles.

/s/ Ernst & Young LLP

Seattle, Washington, United States of America

May 23, 2013, except for Note 16, as to which the date is November 7, 2013

[前へ](#)

[次へ](#)

( 翻訳 )

**独立登録会計事務所の監査報告書**

Acucela Inc.

取締役会および株主各位

我々は、Acucela Inc.の2012年および2011年12月31日現在の貸借対照表ならびに同日をもって終了した年度の損益計算書、包括利益計算書、株主資本等変動計算書およびキャッシュフロー計算書について監査を行いました。これらの財務書類に対する責任は、会社の経営者にあります。我々の責任は、自らの監査に基づいて、これらの財務書類に対する意見を表明することにあります。

我々は、公開会社会計監視委員会（米国）の基準に準拠して監査を行いました。これらの基準は、財務書類に重要な虚偽表示がないかどうかについての合理的な保証を得るために、監査を計画し実施することを求めています。我々は、財務報告に係る会社の内部統制に対する監査を行っていません。我々の監査は、状況に応じた適切な監査手続を立案するための基盤としての財務報告に対する内部統制の検討を含みますが、財務報告に係る会社の内部統制の有効性に対する意見を表明する目的ではありません。したがって、我々はかかる意見の表明は行いません。また監査は、財務書類における金額および開示を裏付ける証拠の試査による検証、経営者が採用した会計方針および経営者によって行われた会計上の重要な見積りの評価ならびに全体としての財務書類の表示の検討も含んでいます。我々は監査の結果として意見表明のための合理的な基礎を得たと判断しています。

我々の意見では、上記の財務書類は、米国において一般に公正妥当と認められている会計基準に準拠して、2012年および2011年12月31日現在のAcucela Inc.の財務状態ならびに同日をもって終了した年度の経営成績およびキャッシュ・フローの状況を、すべての重要な点において、適正に表示しています。

アーンスト・アンド・ヤング・エルエルピー  
米国ワシントン州シアトル市  
2013年5月23日  
(2013年11月7日付の注記16を除きます。)

[前へ](#)