



2025年12月期 第2四半期決算説明資料
窪田製薬ホールディングス株式会社（東証グロース4596）

2025年8月14日

目次

1 エグゼクティブサマリー

2 事業の状況

- エミクススタト塩酸塩 RETAKU®
- ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®
- 在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO®

3 2025年12月期 第2四半期連結実績

4 2025年12月期 業績予想

5 参考資料

エグゼクティブサマリー

エグゼクティブサマリー

2025年中間期の主な経営実績

- 事業収益が前年度上半期と比べてウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の販売により増加。
- 事業費用が前年度上半期と比べて2億54百万円改善。
- 手元資金は期首残高1,455百万円から2025年6月末1,140百万円と315百万円減少。
- ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の中国市場への本格進出。
- スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」について、第3相臨床試験の事後解析であるサブグループ解析の結果を元に、欧州におけるコンパッションネート・ユース・プログラムを利用した早期商業化を推進。

2025年度の展望

- 第3四半期以降に見込まれる中国市場でのウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の販売本格化による事業収益の増加。
- 2025年7月31日に第37回新株予約権として業績連動型有償ストック・オプションを発行。
- 当社連結子会社における和解に伴う受取和解金1.48百万米ドルを、2025年12月期の連結決算のその他の収益に計上。
- ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の中国での大規模臨床試験の開始。
- スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」における欧州市場でのコンパッションネート・ユース・プログラムを利用した商業パートナーとの販売代理契約締結。

第37回新株予約権（業績連動型有償ストックオプション）に関する当社代表取締役窪田良から株主の皆様へのメッセージ

平素より格別のご支援を賜り、心より御礼申し上げます。

このたび、私自身に対して発行および割当された新株予約権（ストックオプション）につきまして、ご報告とともに、私の考えをお伝えさせていただきます。

私は創業以来、当社グループのすべてのパイプライン・製品の企画、開発、推進において中心的な責任を担ってまいりました。今後も代表取締役として、研究開発から事業化、グローバル展開に至るまで、全プロセスを一貫してリードし、企業価値の中長期的な向上に全力で取り組む覚悟です。

今回のストックオプションは、業績目標を達成した場合にのみ行使が可能となる、完全成果連動型の枠組みとなっております。具体的には、2027年12月期から2031年12月期のいずれかの会計年度において、事業収益が500百万円を超えた場合に初めて行使権が発生します。この設定は、現在の当社の業績と比較しても極めて高いハードルであり、それを乗り越えることが、当社の持続的成長と株主の皆さまへの価値還元に直結するものと確信しております。私個人にとっても、これは単なる報酬ではなく、今後の挑戦への「責任」と「覚悟」の表明であり、株主の皆さまとの真の利害一致を図るための手段だと考えております。

引き続きご理解とご支援を賜りますよう、何卒よろしくお願い申し上げます。

第37回新株予約権：業績連動型有償ストックオプションの概要	
目的	当社代表取締役に対して、中長期的な当社の業績拡大及び企業価値の増大を目指すにあたり、より一層意欲及び士気を向上させるため
割当先	窪田 良
本新株予約権の数	59,250個（5,925,000株） 当社発行済株式総数（2025年6月30日時点）の9.88%に相当
その他の本新株予約権の行使の条件	2027年12月期から2031年12月期のいずれかの事業年度において、事業収益500百万円を達成した場合のみ行使可能
発行価額の総額	金326,052,750円

事業の状況

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムを利用した早期商業化の推進

- スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」の重要な商業化活動として、第3相臨床試験後に実施したサブグループ解析の結果に基づき、欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムによる早期商業化を推進中。
- 2025年第3四半期以降、このコンパッション・ユース・プログラムを利用した商業パートナーとの販売契約締結に向けた取り組みを推進。
- 米国市場においては、引き続き1対2のピボタル試験要件の確認及び研究開発パートナーの探索を積極的に推進中。

STARGARDT DISEASE TREATMENT CANDIDATE: EMIXUSTAT HYDROCHLORIDE RETAKU®

Driving early commercialization
under compassionate use
programs in Europe



スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 欧州における市場規模

2023年時点でフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国などの欧州地域がスターガルト病治療薬市場の45%近くを占めております。^{*1}

当社は、欧州市場においてスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、約10億36百万ドル（約1,502億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定31億88百万ドル(約4,623億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の推定スターガルト病患者 * 年間
治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

15億94百万ドル(約2,311億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の中等度スターガルト病患者に対
する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

10億36百万ドル
(約1,502億円^{*3})

目標市場獲得シェア32.5%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

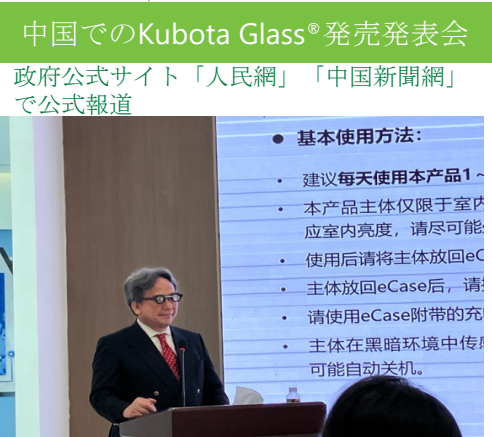
^{*3} 1ドル145円で算出

ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®

中国市場への本格進出活動進捗状況

第3四半期以降の中国市場でのウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の販売本格化により、事業収益の増加を見込んでおります。

	2024		2025											
	24/11	24/12	25/1	25/2	25/3	25/4	25/5	25/6	25/7	25/8	25/9	25/10	25/11	25/12
事業開発	市場調査		市場開拓											
			販売代理店網増強											
マーケティング			SNSマーケティング (RED, Douyin)											
研究開発			大規模臨床試験											



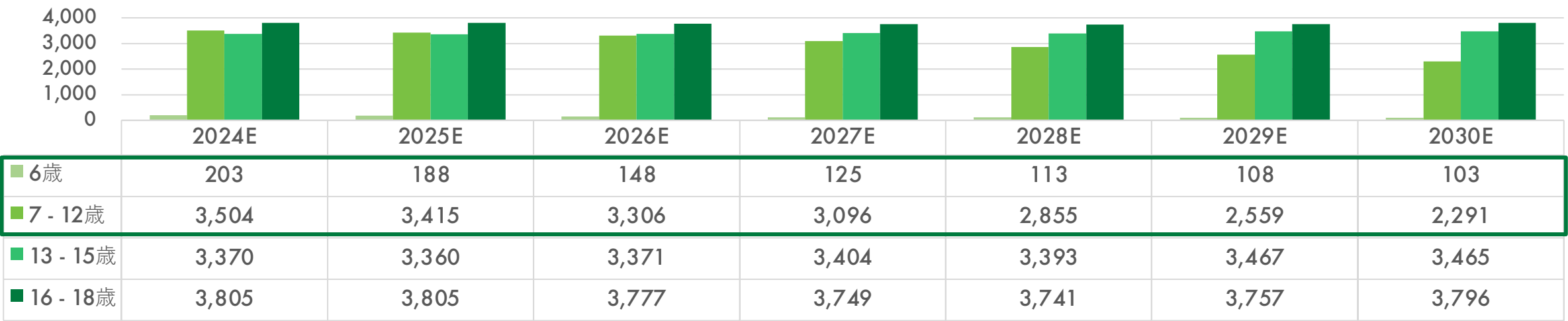
ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®

中国におけるターゲット市場規模

2021年時点で中国の6歳～18歳までの近視人口は約1.1億人であり、将来の近視率と出生人口の減少を考慮しても、今後数年間は**1億人以上の高水準を維持**すると予測されています。*1

単位：万人

中国の6歳～18歳までの近視人口



*1出典: 中国統計局、国家衛生健康委員会、徳邦研究所の推算により作成

→ この層の近視の発症/進行を長期に渡って抑止する事による経済的・生体的価値は大きく、**Kubota Glass®**の独創的な価値を訴求し易い

ターゲット層	1) 5歳～9歳の近視予備群（両親が強い近視） 2) 近視を発症して間もない5歳～12歳の若年層
推定ターゲット人口	32百万人
目標シェア	5%
推定目標売上規模	約5,600億円

在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO® 共同研究及び商業化パートナー企業の探索

- ・引き続き臨床現場での実用化に向けた共同開発パートナー企業、及び商業化パートナー企業の探索を継続。
- ・信州大学医学部附属病院での臨床試験を2025年3月に完了。
- ・ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターで、糖尿病網膜症患者のスクリーニング装置として実用可能であるかの評価、及び市販のOCT装置と比較する臨床試験を実施中。
- ・シンガポール国立大学病院にて臨床試験を開始。



ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターとのPBOS及びOCTに関する物質移転および共同研究契約

本研究は、完全子会社であるKubota Vision Incを通じて米国のハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターテレメディシン部門の共同責任者であるパオロ・S・シルバ博士が主導し、PBOSの糖尿病黄斑浮腫の症例の検出能力の実用性評価と市販OCTとの比較試験の2つの臨床研究を実施しています。

ステータス：

- ・フェーズ1（院内）被験者募集完了
- ・フェーズ2（処方）臨床試験実施中

ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センター：
世界最古で世界最大の糖尿病センターで、ハーバード大学医学大学院と提携しています。



シンガポール国立病院(NUH)とのPBOSに関する共同研究契約

本研究は、完全子会社であるKubota Vision Incを通じて、シンガポール国立病院(NUH)眼科部門ヘッドのヴィクター・コフ准教授が主導し、NUHでの慢性眼疾患のモニタリングに適した革新的でアクセスしやすい眼科ケアモデルを開発を目指しています。

ステータス：

- ・被験者募集完了
- ・臨床試験開始

シンガポール国立病院(NUH):
シンガポール保健省(MoH)傘下の公的ヘルスクラスターMOHホールディングス(MOHH)の医療機関グループであるシンガポール国立大学保健機構 (NUHS)内の最大規模の総合病院です。

2025年12月期 第2四半期連結実績

連結損益計算書 (IFRS)

前年同期比較

増減の主な要因

- ・ 事業収益：ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の販売の増加
- ・ 事業費用：
（研究開発費）ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の開発費用の減少
（販売費及び一般管理費）ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®に関する支払報酬、及び特許関連費用の減少

単位：百万円	FY2024 中間期	FY2025 中間期	増減額	増減率
事業収益	10	13	3	30.6%
事業費用	685	431	△254	△37.1%
売上原価	2.1	4.6	2.5	119.5%
研究開発費	305	144	△161	△52.9%
販売費及び一般管理費	378	283	△95	△25.2%
営業利益	△675	△450	-	-
親会社所有者に帰属する中間利益	△669	△450	-	-
中間包括利益合計額	△652	△450	-	-

連結損益計算書 (IFRS)

四半期比較

- ・第2四半期の事業収益は第1四半期比減収となったが、前年同期比では増収
- ・販売費及び一般管理費を抑制し、営業利益を改善

前年同期比

直前四半期比

単位：百万円	FY2024 Q2	FY2024 Q3	FY2024 Q4	FY2025 Q1	FY2025 Q2	直前 四半期比	前年 同期比
事業収益	5	7	10	7	6	△23.6%	16.5%
事業費用	343	287	287	240	191	△20.2%	△44.2%
売上原価	1.1	1.8	1.3	0.8	3.8	365.8%	259.1%
研究開発費	140	114	125	71	73	2.1%	△48.3%
販売費及び一般管理費	201	172	161	168	115	△31.5%	△42.8%
営業利益	△338	△280	△333	△259	△191	-	-
四半期利益	△326	△331	△333	△259	△191	-	-

連結財政状態計算書 (IFRS)

前年期末比

増減の主な要因

- ・資産：（流動資産）現金及び現金同等物の減少、（非流動資産）有形固定資産の増加
- ・負債：（流動負債）買掛金、及び未払報酬の減少、（非流動資産）リース負債の増加
- ・資本：中間損失の計上により繰越損失（利益剰余金のマイナス）が拡大

単位：百万円	FY2024 Q4	FY2025 Q2	増減額	増減率
流動資産	1,531	1,202	△329	△21.5%
現金および現金同等物、その他の金融資産	1,455	1,140	△315	△21.7%
非流動資産	10.6	10.4	△0.2	△1.7%
その他の金融資産	-	-	-	-
資産合計	1,542	1,213	△329	△21.4%
流動負債	151	112	△39	△26.0%
非流動負債	1	14	13	-
資本合計	1,390	1,087	△303	△21.8%
負債および資本合計	1,542	1,213	△329	△21.4%
手元資金 (現金および現金同等物、その他の金融の合計)	1,455	1,140	△315	△21.7%
自己資本比率（%）	90.1%	89.6%	-	△0.5pts

2025年12月期 業績予想

2025年12月期 業績予想

単位：百万円	事業収益	営業利益	税引前利益	当期利益	現金および 現金同等物
2025年度：予想	-	-	-	-	-
2024年度：実績	27	△1,289	△1,333	△1,333	1,455

今後の事業の進捗を踏まえ、開示に資する合理的な算出が可能になり次第、速やかに開示予定
既に商業化されているウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の海外からの売上の立ち上がりがずれ込んでおり、営業損失及び営業キャッシュ・フローのマイナスが継続していることに加えて、資金調達額が減少しております。

このような状況を鑑み、当社グループは以下のような施策の実行に向けて取り組んでおります。

1. ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の中国主要都市をカバーする販売網の早期構築と売上の早期立ち上げ
2. ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の中国での販売拡大を後押しする大規模臨床試験の早期開始
3. ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の台湾、シンガポールにおける販売代理店の早期アポイント、及び認知度向上を目的としたマーケティングの強化
4. ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®の生産体制合理化による品質改善と製造原価低減
5. エミクススタ塩酸塩 RETAKU®の欧州におけるコンパッショネート・ユース・プログラムを利用した早期商業化
6. 社内要員体制の見直しによる人件費の削減
7. 企業との資本業務提携等、新株予約権（行使価額修正条項付）以外の資金調達

以上の施策により、事業収入増加、コストの削減並びに資金調達の可能性を高めることで継続企業の前提に対する疑義の解消に努めてまいります。
各施策の成果についての不確実性を考慮してもなお当中間連結会計期間の末日現在において、当面の事業展開に必要な資金を十分に確保しており、当社グループは継続企業の前提に関する重要な不確実性は認められないと判断しております。

支出に関しては、生産体制の維持と合理化、製品の改良、製造コスト削減、科学的エビデンスの増強、といった活動を同時並行で進めております関係上、研究開発費用が大幅に変動する可能性を否認しません。
収益に関しては、ウェアラブル近視デバイス Kubota Glass®が非常に新規性の高い製品であることから、現時点で正確な需要予測をおこなうことが困難です。

參考資料

会社概要

名称	窪田製薬ホールディングス株式会社
設立	2015年12月
資本金	33百万円
本社所在地	〒107-0062 東京都港区南青山一丁目15番37号
代表者	代表取締役会長、社長兼最高経営責任者(CEO) 窪田 良 眼科医、医学博士
グループ会社	Kubota Vision Inc.（出資比率：100%、完全子会社） 所在地：アメリカ合衆国ワシントン州シアトル市、スプリングストリート107
市場情報	東京証券取引所グロース市場（証券コード4596）
事業内容	医療用医薬品と医療機器の開発・販売
パイプライン	低分子化合物 ・エミクススタト塩酸塩 RETAKU [®] （対象疾患：スターガルト病、増殖糖尿病網膜症） ・VAP-1阻害剤（対象疾患：アルツハイマー病、代謝機能障害関連脂肪肝炎） 医療機器等 ・在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 PBOS（対象疾患：ウェット型加齢黄斑変性、糖尿病黄斑浮腫） ・超小型眼科診断装置 SS-OCT（対象疾患：宇宙飛行関連神経眼症候群）
販売製品	ウェアラブル近視デバイス（対象疾患：近視）Kubota Glass [®]
業務提携	アメリカ航空宇宙局（NASA）、ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センター、シンガポール国立大学保健機構（シンガポール国立病院）、中国医薬大学、他
知的財産権	特許権：121件（医薬品60件、医療機器61件）2024年12月時点



取締役会

代表取締役



窪田 良 眼科医、医学博士
窪田製薬ホールディングス株式会社 会長兼社長、最高経営責任者
Director of the Board, Chairman, President, and Chief Executive Officer at Kubota Vision Inc.
NASAディープスペースミッション HRP研究代表者

取締役（非業務執行）



中川 祐輝
窪田製薬ホールディングス株式会社 社外取締役 監査等委員
クリアデラ株式会社 代表取締役

取締役（非業務執行）



藤原 正明
窪田製薬ホールディングス株式会社 社外取締役 監査等委員
株式会社バイカ・セラピューティクス 取締役
東京大学大学院農学生命科学研究科 One Earth Guardians 育成機構 非常勤講師
一般社団法人One Earth Guardiansオフィス 理事
株式会社凜研究所 代表取締役

取締役（非業務執行）



澁谷 太志
窪田製薬ホールディングス株式会社 社外取締役 監査等委員
渋谷キャピタルグループ株式会社 代表取締役

CEO略歴

FINDING CURE FOR BLINDNESS

窪田製薬ホールディングス株式会社 代表取締役会長兼社長、最高経営責任者

Director of the Board, Chairman, President, and Chief Executive Officer at Kubota Vision Inc.



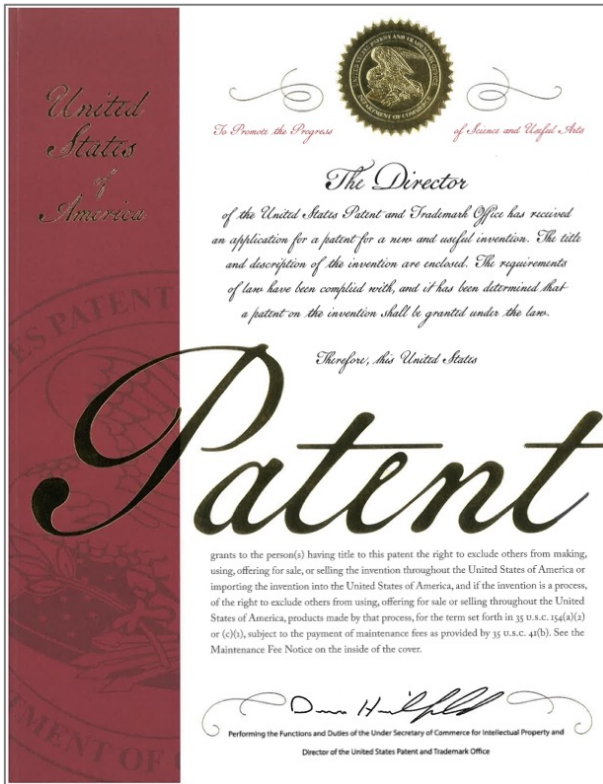
窪田 良
眼科医、医学博士

- 1991年 慶應義塾大学医学部卒業、医師免許取得
- 1995年 緑内障原因遺伝子「ミオシリン」の発見（1995年冬）
- 1996年 日本眼科学会専門医認定取得、虎の門病院勤務
- 1997年 緑内障原因遺伝子「ミオシリン」の論文発表、須田賞（須田記念緑内障治療研究奨励基金）を受賞
- 1999年 慶應義塾大学医学部大学院修了博士号取得
- 2000年 ワシントン大学医学部構造生物学教室シニアフェロー
- 2001年 ワシントン大学医学部眼科学教室助教授
- 2002年 Acucela Inc.（現Kubota Vision Inc.）設立、Board Director, Chairman, President, and CEO（現任）
- 2008年 ワシントン州日米協会理事
- 2012年 ケース・ウェスタン・リザーブ大学 フォーサイト・アドバイザーメンバー
- 2013年 一般社団法人ジェイ・アイ・ジー・エイチ アドバイザー
- 2014年 G1ベンチャー アドバイザリー・ボード、全米アジア研究所理事、慶應義塾大学医学部客員教授
- 2015年 医学系大学産学連携ネットワーク協議会(medU-net)相談役
- 2016年 窪田製薬ホールディングス株式会社 取締役 代表執行役会長、社長兼最高経営責任者
- 2018年 NASAディープスペースミッション HRP研究代表者（現任）
- 2020年 FDA Orphan Products Clinical Trials Grants Programに採択
- 2023年 窪田製薬ホールディングス株式会社 代表取締役会長、社長兼最高経営責任者（現任）
- 2024年 Kubota Vision Japan株式会社 代表取締役会長、社長兼最高経営責任者

特許戦略：技術革新を支える強固な特許ポートフォリオの構築と維持

当社は創業以来、知的財産を重視した経営戦略を推進し技術の最大限の活用と企業価値の向上に取り組んでおり、特許戦略として、技術革新を支える強固な特許ポートフォリオの構築と維持を目的としております。

2024年12月末時点で、医薬品60件、医療機器等61件の特許を保有しており、主に以下に関する技術をもとに革新的な医薬品や医療技術の開発を推進しています。



視覚サイクルを調整して網膜疾患の進行を抑える医薬品（エミクススタト塩酸塩）：

視覚サイクルモジュレーション技術(VCM技術)に関する物質特許および用途特許を独占的に保有しています。この技術の主な効果は、ビタミンA代謝に関与するRPE65を抑制し、11-cis-レチナール量を低下させることで、視覚サイクル内の細胞毒性物質を減少させることです。さらに、一時的に暗所視状態を維持することで、網膜の代謝負荷を軽減し、視機能の保護が期待されています。

炎症性疾患および変性疾患に対するVAP-1阻害剤：

血管内皮に関与する酵素を標的とし、炎症反応や組織変性の進行を抑制する新しい作用機序の医薬品技術

近視の改善を目指す眼鏡型・コンタクト型デバイス技術（クボタメガネ・テクノロジー®）：

特殊な映像を網膜に投影することで近視の改善を目指す新しい視覚刺激技術で、メガネ型およびコンタクトレンズ型デバイスの光学設計に関する特許を保有

在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO®：

VCSEL(垂直共振器面発光レーザー)を用いた低コストのOCT(光干渉断層計)技術で、VCSELの採用により、従来の大型・高価なOCT装置を超小型化し、在宅や遠隔医療向けの眼科診断機器の提供が可能

エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

対象疾患：スターガルト病、増殖糖尿病網膜症



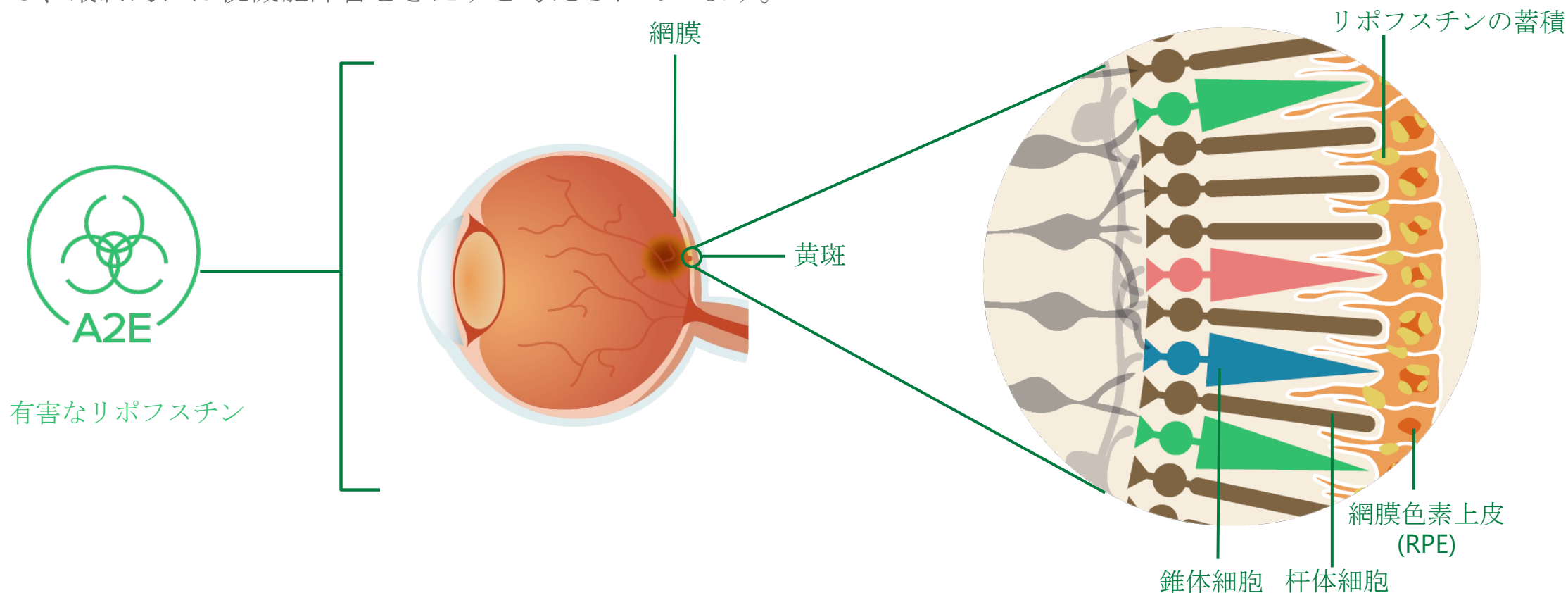
スターガルト病とは

スターガルト病は、遺伝性の突然変異で罹患する若年性黄斑変性で希少疾患と呼ばれる患者数の少ない病気です。8千～1万人に1人が罹患すると言われており、米国、欧州、日本において、合計15万人弱の患者がいると推定されています。早い人では学童期から発症する病気で、徐々に視細胞が損傷されていく遺伝性の病気です。視野の欠損、色覚異常、歪み、ぼやけ、「目の中心部が見えづらい」と訴えることもあり、病気の進行と共に、見えない範囲が広がっていきます。



スターガルト病の症状

スターガルト病は遺伝性の黄斑変性症で、主に小児期から若年成人期に発症し進行性の視力低下を引き起こします。有害代謝産物の前駆物質を分解する細胞に輸送する働きをするABCA4遺伝子の変異が原因であることが多く、視細胞の代謝産物であるビタミンA由来の有害なリポフスチン（脂褐色素）が網膜に蓄積し、黄斑部の視細胞がダメージを受けて視力低下を引き起こし、最終的には視機能障害をきたすと考えられています。

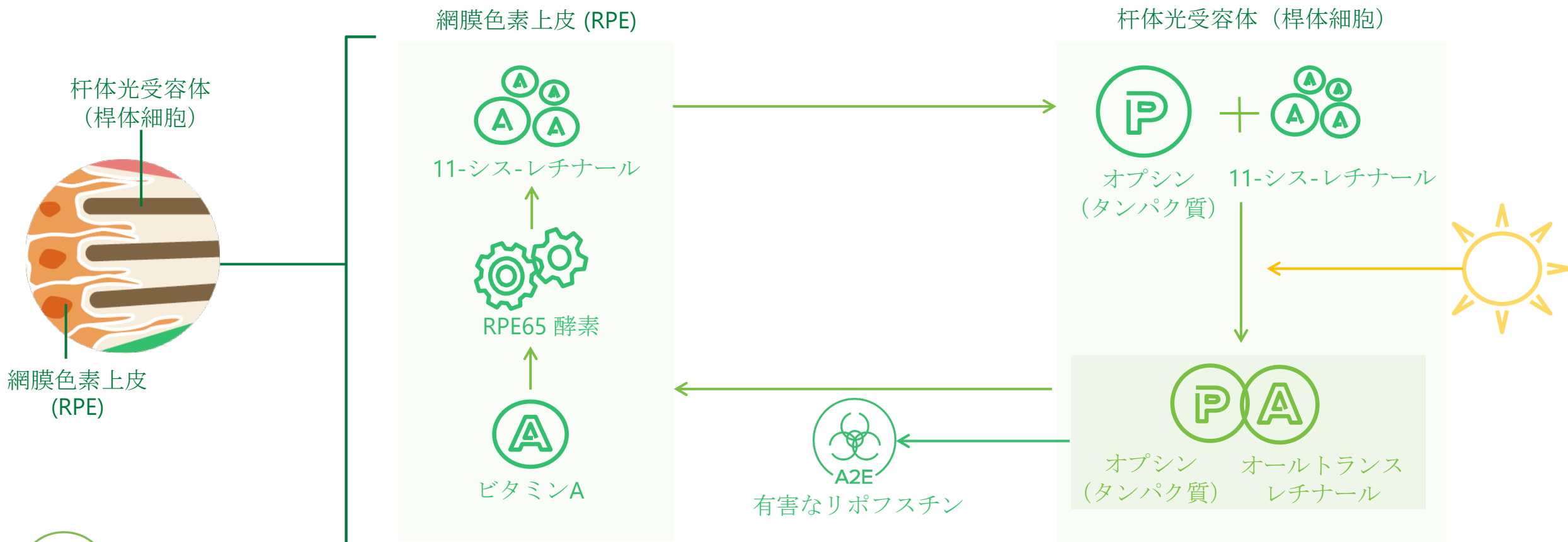


リポフスチン：細胞内で分解されずに残った脂質やタンパク質などが変性したもので、加齢や様々な要因によって細胞内に蓄積する黄褐色の色素

A2E：桿体細胞に存在する光受容タンパク質であるロドプシンの分解過程で生成される化合物で、リポフスチンを構成する主要な化合物。特に網膜色素上皮細胞に多く蓄積

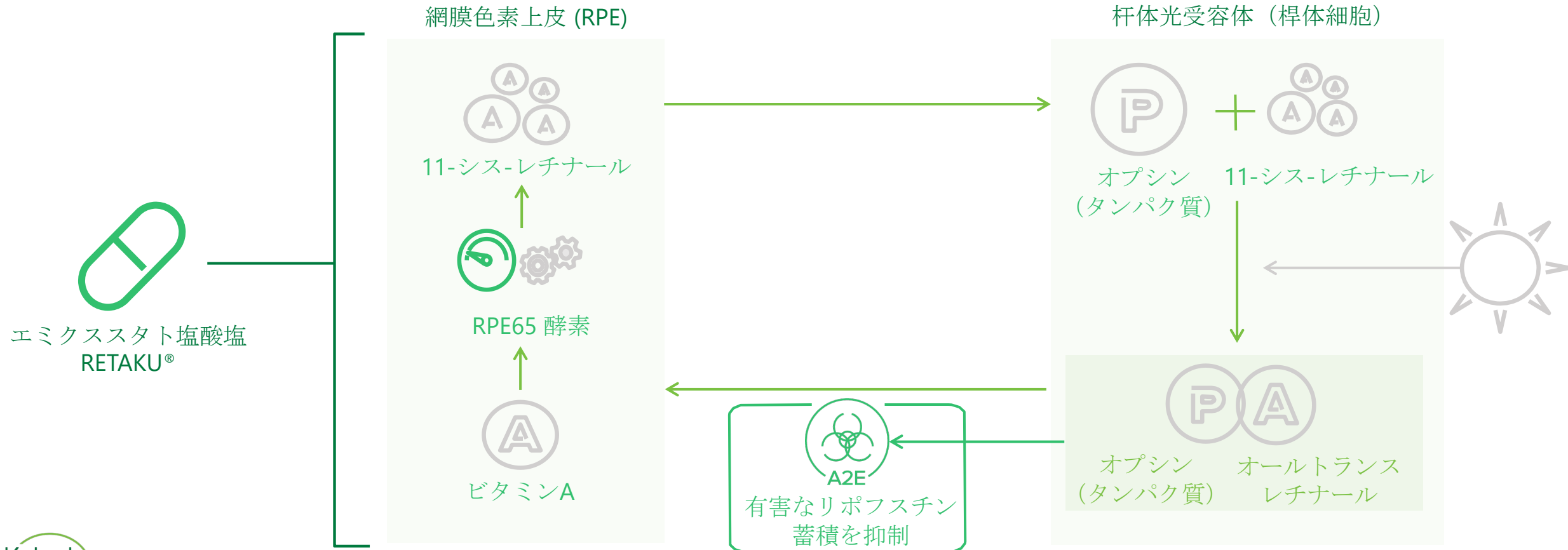
視覚サイクルとスターガルト病のメカニズム（簡略図）

視覚サイクルとスターガルト病のメカニズムとして、網膜色素上皮(RPE)内在の11-シス-レチナールというビタミンAの一つがオプシンというタンパク質が結合して光を感じる物質になり、光があたると11-シス-レチナールがオールトランスレチナールという、より熱医学的に安定したかたちに変化し人間の脳は「光が感じられた」と感じるようになります。スターガルト病は、このオールトランスレチナールを解毒酵素（RPE65）のところに運ぶためのトランスポーター遺伝子であるABCA4遺伝子の変異があり、高い確率でより速く眼の中に有害なりポフスチン（脂褐色素）が網膜に蓄積し視機能障害が発症します。



エミクススタト塩酸塩の作用機序（薬理的メカニズム）

エミクススタト塩酸塩は、当社グループ独自の視覚サイクルモジュレーション技術（VCM技術）により視覚サイクル中の重要な酵素であるRPE65を選択的に阻害することで視覚サイクルによって生じる老廃物を減らす効果があり、スターガルト病の抑制が期待されています。

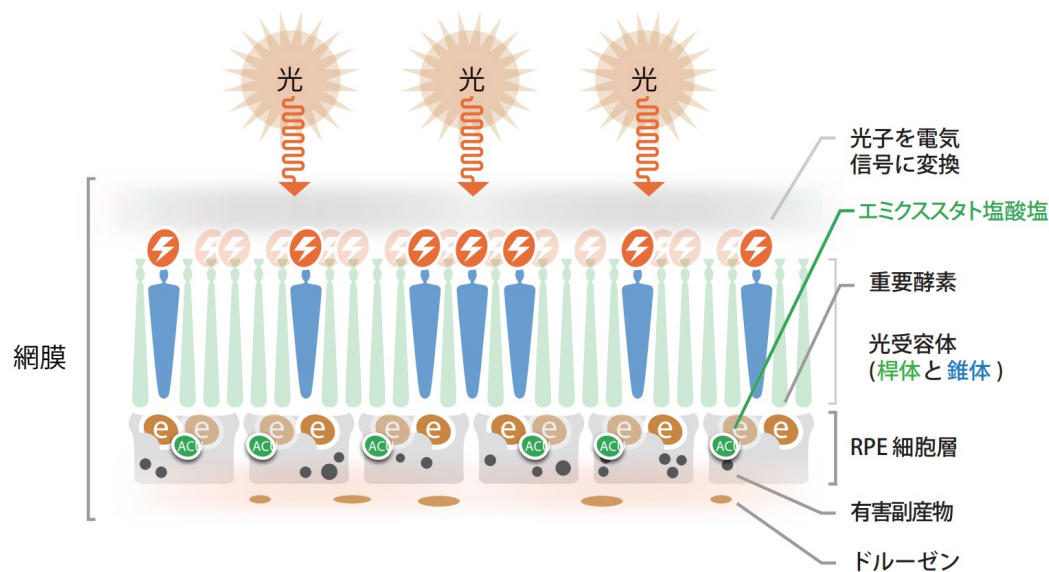


エミクススタト塩酸塩：独自の視覚サイクルモジュレーション技術と付帯する特許ポートフォリオ

視覚サイクルモジュレーション技術（VCM技術）とは、視覚サイクル（眼球の後部にある網膜内にて光子が電気信号へと変換する仕組み）によって網膜に蓄積する有害副産物を減少させ、また酸化ストレスにより網膜の障害を低減し、光ダメージから網膜を保護する効果が期待される治療技術です。

網膜色素上皮（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。エミクススタト塩酸塩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。エミクススタト塩酸塩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、病状の進行が遅くなります。

独自の視覚サイクルモジュレーション技術



エミクススタト塩酸塩に関わるもの含むVCM特許

区分	医薬品(VCM)
取得済特許	55件
出願中特許	9件

当社グループはこのVCM技術がエミクススタト塩酸塩にて視覚サイクルで重要な働きをするRPE65と呼ばれる酵素を選択的に阻害する効果があると臨床試験の結果から確認しており、エミクススタト塩酸塩の開発に関わるものを含めVCM技術に関する特許を55件取得（医薬品分野）しております。

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

主要展開国における市場規模

スターガルト病治療薬の市場は、世界全体で年平均成長率31.7%の成長が見込まれており、2023年時点で米国がスターガルト病治療薬市場の約55%を占め、残りの45%近くがフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国で占めています。^{*1}
当社は、スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」の米国、欧州、英国、日本での上市を目指しており、27億24百万ドル（約3,950億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定72億87百万ドル(約1兆566億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する推定スターガルト病患者 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

36億43百万ドル(約5,380億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する中等度スターガルト病患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

27億24百万ドル
(約3,950億円^{*3})

目標市場獲得シェア37.4%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® アメリカ合衆国における市場規模

2023年時点で米国がスターガルト病治療薬市場の約55%を占めております。^{*1}

当社は、米国市場においてスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、約12億49百万ドル（約1,811億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM
(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定31億22百万ドル(約4,527億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する米国の推定スターガルト病患者 * 年間治療費

SAM
(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

15億61百万ドル(約2,263億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する米国の中程度スターガルト病患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM
(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

12億49百万ドル
(約1,811億円^{*3})

目標市場獲得シェア40.0%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 欧州における市場規模

2023年時点でフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国などの欧州地域がスターガルト病治療薬市場の45%近くを占めております。^{*1}

当社は、欧州市場においてスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、約10億36百万ドル（約1,502億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定31億88百万ドル(約4,623億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の推定スターガルト病患者 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

15億94百万ドル(約2,311億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の中等度スターガルト病患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

10億36百万ドル
(約1,502億円^{*3})

目標市場獲得シェア32.5%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 日本における市場規模

当社は、日本市場においてスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、約4億39百万ドル（約637億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)

対象市場全体

推定9億76百万ドル(約1,415億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する日本の推定スターガルト病患者 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration

提供可能市場

4億88百万ドル(約708億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する日本の中等度スターガルト病患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)

獲得見込市場

4億39百万ドル
(約637億円^{*3})

目標市場獲得シェア45.0%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® オーファンドラッグ認定

米国食品医薬品局(FDA)、欧州医薬品庁(EMA)からオーファンドラッグ認定



2017年1月認定



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019年6月認定

オーファンドラッグは稀少疾病用医薬品と呼ばれ、治療が困難な病気や患者数が少ない病気に対する治療薬のことをいいます。日本においては患者数が5万人未満であること、米国では治療薬が存在しない疾患に対して患者数が20万人未満であること、開発コストが販売から回収される見込みがないことなどの基準が設けられています。

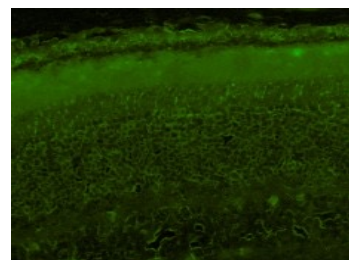
また病気を治療する医薬品の重要性に基づき研究開発が進むよう、公的援助制度等を整備することを目的に米国FDAにより「オーファンドラッグ法」が制定されています。オーファンドラッグに指定された場合、開発促進を図るためにスポンサー（開発）企業は以下のように市場の独占期間、迅速承認制度、申請費用の優遇、助言・指導の優遇、税制措置という手厚い支援制度を享受することができます。

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

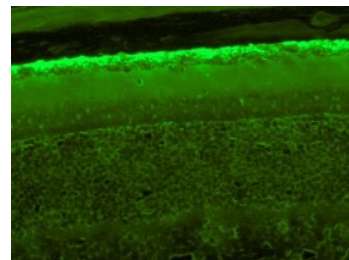
エミクススタト塩酸塩による有害なビタミンA代謝物A2Eの減少効果

ABCA4遺伝子をノックアウトしたマウスにおける実験モデル。野生型マウスにおいて、エミクススタト塩酸塩の単回経口投与後、杆体光受容体（桿体細胞）に内在し光を感知して視覚情報に変換するための化学物質である視覚クロモフォア（11-シス-レチナール）の産生が減少し、リポフスチン（脂褐色素）の自己蛍光が著しく減少するとともに、A2Eの蓄積も低下。

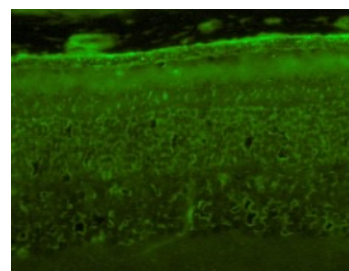
A2E／リポフスチンの減少



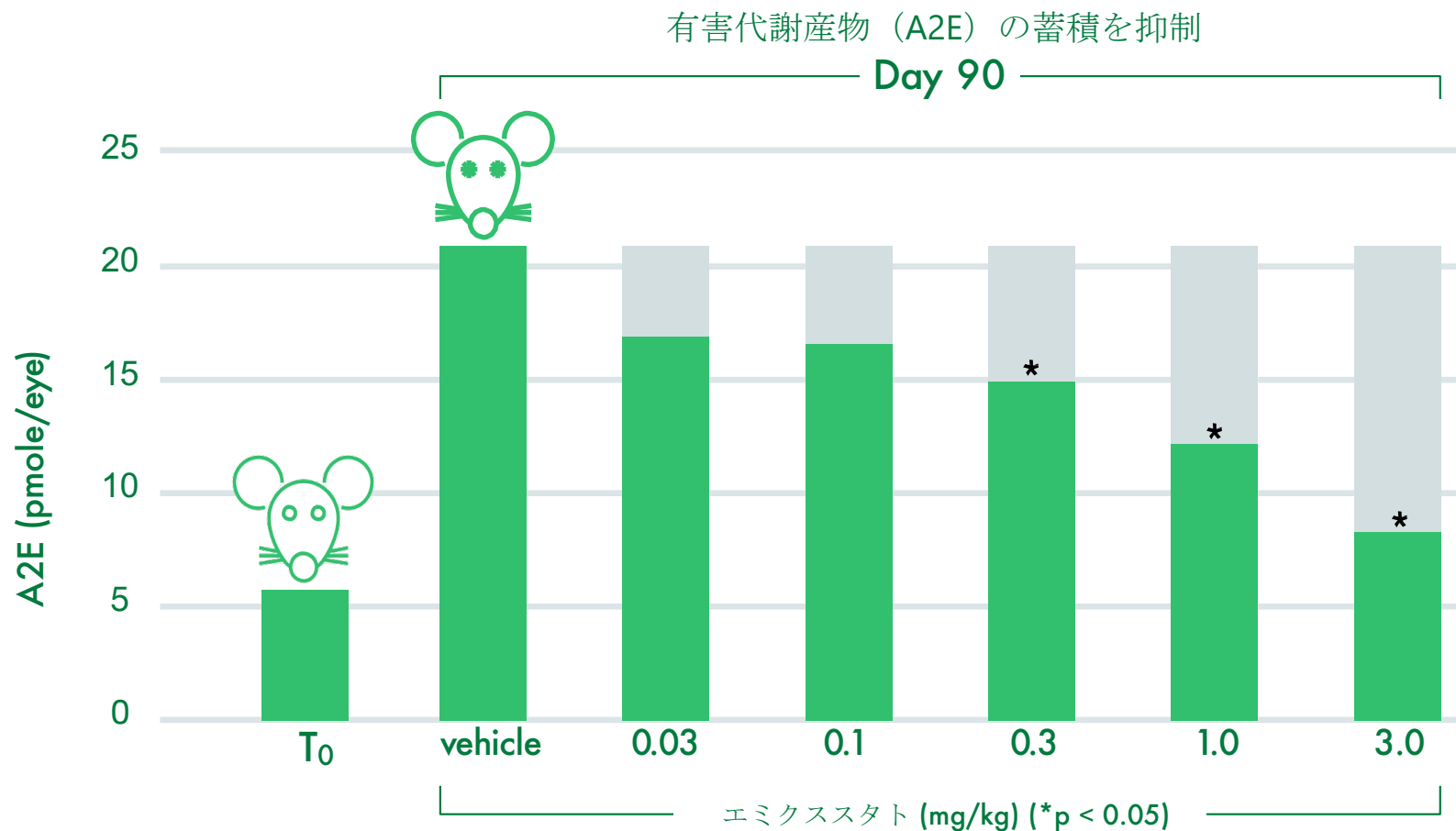
正常な網膜



ABCA4-/-
(vehicle)



ABCA4-/-
(エミクススタト3mg/kg)



FDA Orphan Products Clinical Trials Grants Programの助成プログラムにエミクススタト塩酸塩の臨床試験が選定

FDAより助成金：3年間で総額最大163万ドル（約1.7億円）

2020年8月、スターガルト病を適応症として実施している治療候補薬エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験が、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration: FDA）より、Orphan Products Clinical Trials Grants Program^{*1}の助成プログラムに選定。3年間で総額最大163万ドル（約1.7億円）の助成金となる。

FDAのこの助成金プログラムは、1983年に開始されており37年間で667件の研究開発が採択（2020年時点）されているが、その殆どが大学所属の研究者で企業の採択率は全分野のうち3%であり、日本人社長、日本のグループ企業で初めて採択。

^{*1} 米国食品医薬品局（FDA）が運営する資金支援プログラムで、具体的には希少疾病医薬品開発事務局（Office of Orphan Products Development: OOPD）を通じて実施されています。このプログラムは、希少疾患向けの製品の臨床開発を支援することを目的としています。



Dr. Stephen M. Hahn,
24th the U.S. Commissioner of Food and Drugs



Dr. Stephen M. Hahn
@SteveFDA

FDA announces that it has awarded 6 new clinical trial research grants to principal investigators from academia and industry totaling over \$16 million over the next four years.

ツイートを翻訳



午前4:58 · 2020年10月9日 · Twitter for iPhone

<https://x.com/SteveFDA/status/1314294028331081729>

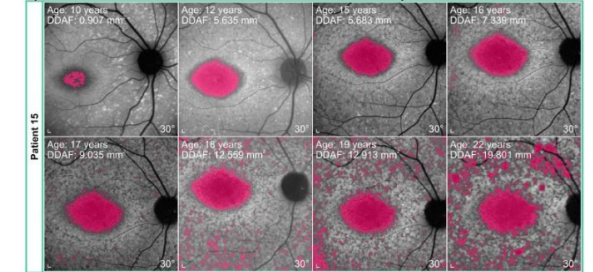
スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

第3相試験

スターガルト病に伴う黄斑萎縮の治療におけるエミクススタト塩酸塩とプラセボの有効性及び安全性を比較する
第3相多施設共同ランダム化二重盲検試験



* Example of Increase in the DDAF area (pink) Autofluorescence



Sajovic J et al. Natural History of Stargardt Disease: The Longest Follow-Up Cohort Study. *Genes (Basel)*. 2023 Jul 2;14(7):1394.

研究目的：

スターガルト病の患者において、エミクススタト塩酸塩がプラセボと比較して黄斑萎縮の進行速度を軽減するかどうかを評価する

研究群と介入：

194例

2つの治療群：エミクススタト塩酸塩10mg（5mgまで減量可能）またはプラセボ

投与方法と期間：研究薬を1日1回経口投与し、24ヶ月間継続

研究結果の評価

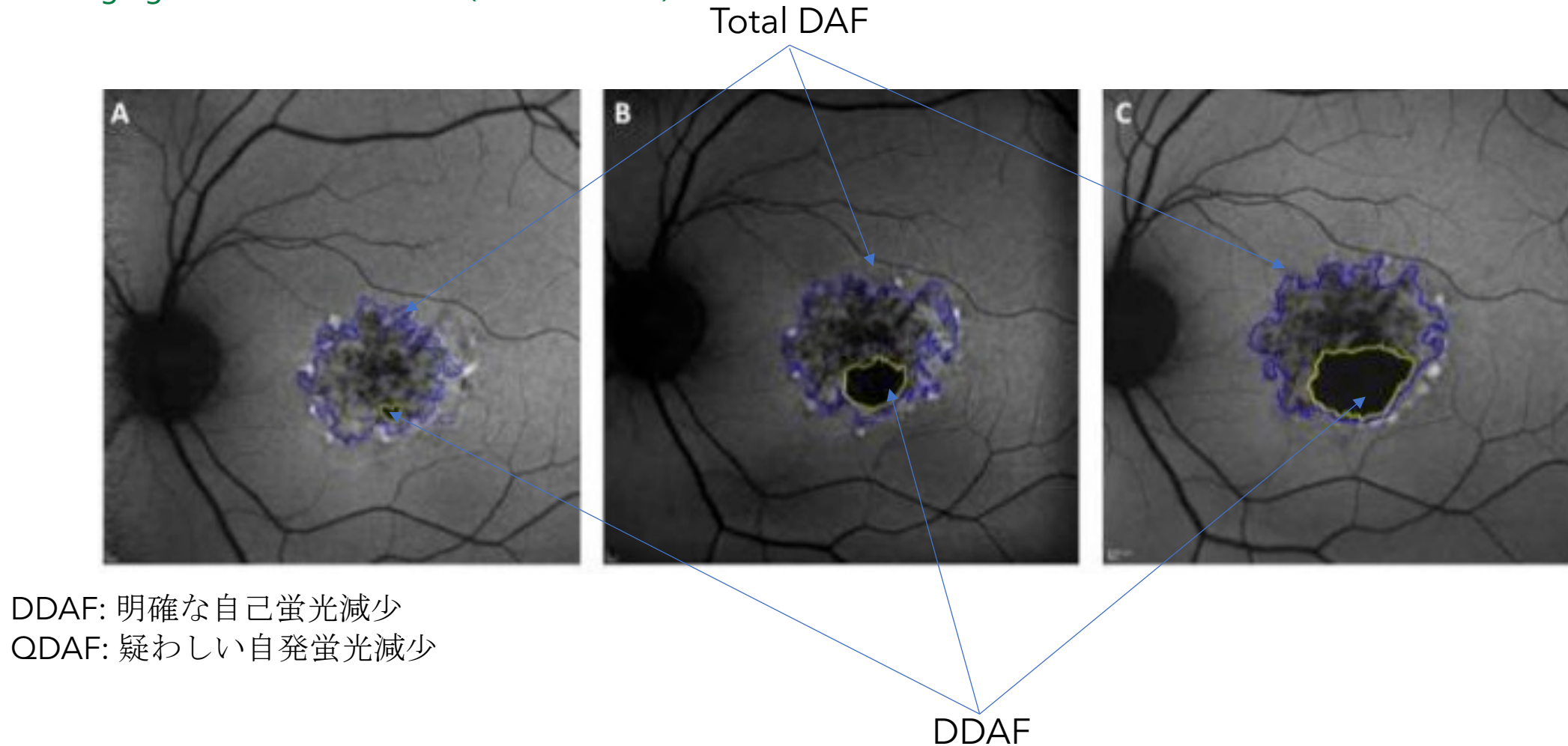
主要評価項目：網膜色素変性症の総面積の変化率の平均値（網膜自発蛍光法*による測定）

副次評価項目：有害事象（AE）、網膜感度とコントラスト感度の変化、追加のイメージング評価項目、読字速度の変化、
最良矯正視力早期糖尿病網膜症研究（ETDRS）視力検査文字スコアの変化

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

第3相試験における主要評価項目FAF Imaging

FAF Imaging – DDAF vs Total DAF (DDAF+QDAF)



Ref: Strauss RW et al. ProgStar Study Group. Progression of Stargardt Disease as Determined by Fundus Autofluorescence Over a 12-Month Period: ProgStar Report No. 11. *JAMA Ophthalmol.* 2019 Oct 1;137(10):1134-1145.

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

第3相試験の試験結果

サブグループ解析の結果をもとに、引き続き第3相試験の治療の有効性と安全性を統計的に検証する最終段階の試験である1対2のピボタル試験要件の確認を進める

主要評価項目：

未達成－黄斑萎縮の進行率

・エミクススタト塩酸塩 = 1.280 mm²/年

・プラセボ = 1.309 mm²/年

差 = 0.029 mm²/年 (2.2%)

p = 0.8091

副次評価項目：いずれも達成されず

サブグループ解析：

ベースラインで萎縮性病変が小さい被験者において、エミクススタト塩酸塩により進行が遅くなった

探索的解析により小さな病変のカットオフ値を設定： <4.4 mm²

・エミクススタト塩酸塩とプラセボの差を最大化

・被験者の約1/3が24ヶ月間投与を受けたこのサブグループにおける治療群間の潜在的な差異を考慮し、単変量解析と多変量解析により、病変の進行に影響を与える基線因子を特定。

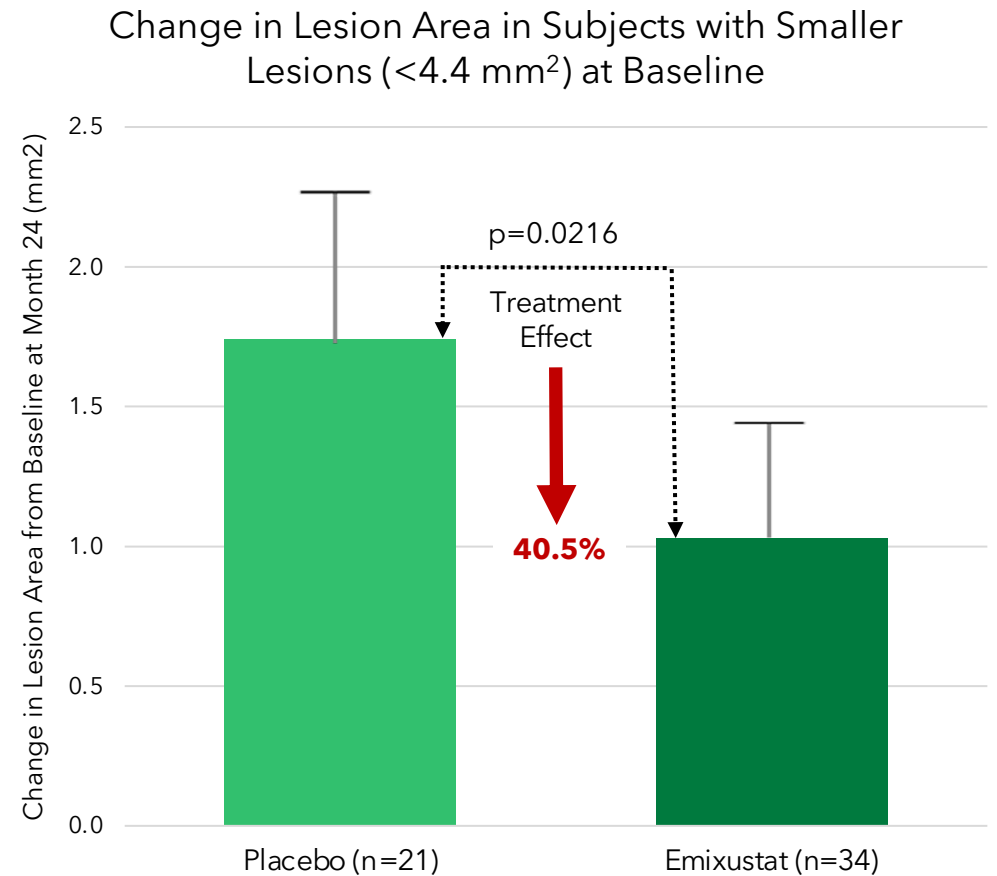
・多変量解析では、有意な基線因子を調整

エミクススタト塩酸塩 = 2年間で1.03 mm²

プラセボ = 2年間で1.74 mm²

エミクススタト塩酸塩で**40.5%の減少**

p = 0.0216



スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムを利用した早期商業化の推進

- スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」の重要な商業化活動として、第3相臨床試験後に実施したサブグループ解析の結果に基づき、欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムによる早期商業化を推進中。
- 2025年第3四半期以降、このコンパッション・ユース・プログラムを利用した商業パートナーとの販売契約締結に向けた取り組みを推進。
- 米国市場においては、引き続き1対2のピボタル試験要件の確認及び研究開発パートナーの探索を積極的に推進中。

STARGARDT DISEASE TREATMENT CANDIDATE: EMIXUSTAT HYDROCHLORIDE RETAKU®

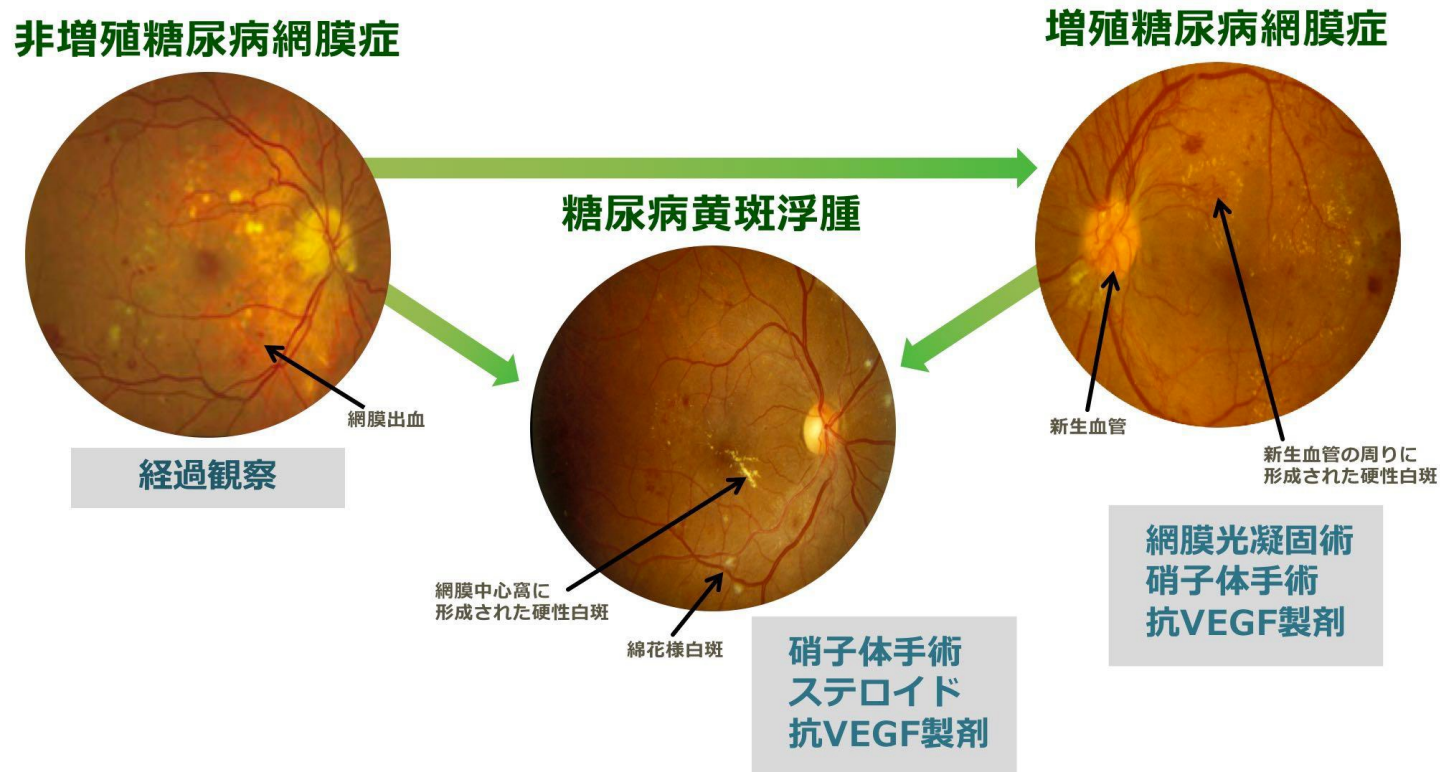
Driving early commercialization
under compassionate use
programs in Europe



増殖糖尿病網膜症・糖尿病黄斑浮腫とは

糖尿病網膜症は成人が失明する主な原因のひとつであり、視野の中心部が黒ずんだり、ぼやけたりする視野障害や視力低下が特徴です。進行性疾患であり、比較的軽症の段階である非増殖糖尿病網膜症と、より重度な増殖糖尿病網膜症があり、このどちらの段階でも糖尿病黄斑浮腫を発症する恐れがあります。

米国眼科学会(AAO)では、1型糖尿病を15年程患っている約80%の患者が糖尿病網膜症を発症していると推定しています。病気の進行を抑制する抗VEGF療法などの治療法はありますが手術や眼球への注射が必要であり、身体的負担のかからない低侵襲な治療法の確立が求められています。



増殖糖尿病網膜症治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU®

主要展開国における市場規模

2030年までの糖尿病網膜症治療薬市場の年平均成長率は、世界全体で6.7%、米国で6.6%、EU 5カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国）で約6.5～7.0%、日本で7.3%拡大すると予測されています。^{*1}

当社は、増殖糖尿病網膜症治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」の米国、EU 5カ国、日本での上市を目指し、27億95百万ドル（約4,053億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定171億80百万ドル(約2兆4,911億円^{*3})

1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症推定患者数 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

40億95百万ドル(約5,938億円^{*3})

1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

27億95百万ドル
(約4,053億円^{*3})

目標市場獲得シェア16.3%

^{*1} 出所: Grand View Research, Inc., TechSci Research, Insights10, Pioneering Marketdigits, Research and Markets, and Market Research Future

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

増殖糖尿病網膜症治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® アメリカ合衆国における市場規模

2030年までの糖尿病網膜症治療薬市場の年平均成長率は、米国で6.6%拡大すると予測されています。^{*1}

当社は、米国市場において増殖糖尿病網膜症治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、11億69百万ドル（約1,695億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定51億94百万ドル(約7,531億円^{*3})

米国の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症推定患者数 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

15億58百万ドル(約2,259億円^{*3})

米国の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

11億69百万ドル
(約1,695億円^{*3})

目標市場獲得シェア22.5%

^{*1} 出所: Grand View Research, Inc., TechSci Research, Insights10, Pioneering Marketdigits, Research and Markets, and Market Research Future

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

増殖糖尿病網膜症治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 欧州における市場規模

2030年までの糖尿病網膜症治療薬市場の年平均成長率は、EU 5カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国）で約6.5～7.0%拡大すると予測されています。^{*1}

当社は、欧州市場において増殖糖尿病網膜症治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、12億71百万ドル（約1,843億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定105億93百万ドル(約1兆5,360億円^{*3})

EU 5カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国）および英国の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症推定患者数 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

21億19百万ドル(約3,073億円^{*3})

EU 5カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国）および英国の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

12億71百万ドル
(約1,843億円^{*3})

目標市場獲得シェア12.0%

^{*1} 出所: Grand View Research, Inc., TechSci Research, Insights10, Pioneering Marketdigits, Research and Markets, and Market Research Future

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

増殖糖尿病網膜症治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 日本における市場規模

2030年までの糖尿病網膜症治療薬市場の年平均成長率は、日本で7.3%拡大すると予測されています。^{*1}

当社は、日本市場において増殖糖尿病網膜症治療候補薬「エミクススタト塩酸塩 RETAKU®」により、3億55百万ドル（約515億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM (Total Addressable Market) 対象市場全体	推定13億92百万ドル(約2,018億円)^{*3} 日本の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症推定患者数 * 年間治療費
SAM (Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration 提供可能市場	4億18百万ドル(約606億円)^{*3} 日本の1型糖尿病および2型糖尿病に起因する増殖糖尿病網膜症患者に対する推定最大市場普及率で試算
SOM (Serviceable Obtainable Market) 獲得見込市場	3億55百万ドル (約515億円)^{*3} 目標市場獲得シェア25.5%

^{*1} 出所: Grand View Research, Inc., TechSci Research, Insights10, Pioneering Marketdigits, Research and Markets, and Market Research Future

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

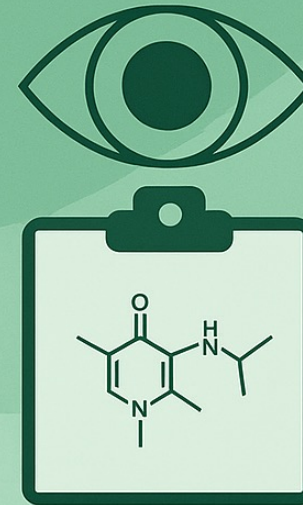
増殖糖尿病網膜症治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 RETAKU® 後期第2相試験及び第3相試験を実施するパートナーの探索

当社は現在、後期第2相試験および第3相試験の実施に向けた共同開発パートナーの選定を継続しており、併せて糖尿病網膜症領域に注力するバイオフーマ企業への提携機会の働きかけを進めております。

なお、第3相試験につきましては、約1,000名の患者を対象とした大規模試験を想定しており、後期第2相試験及び第3相試験でのVEGF阻害剤との比較データが整い次第、商業化に関心を寄せている複数の企業に対し、戦略的な提案を行う予定です。

FOR PROLIFERATIVE DIABETIC RETINOPATHY

Ongoing Search for Partners to Conduct Late-Stage Phase 2 and Phase 3 Clinical Trials



The planned Phase 3 trial is expected to be a large-scale study involving approximately 1,000 patients.

Once comparative data vs. VEGF inhibitors are obtained,



We are continuing to search for strategic partners to conduct the late-stage Phase 2 and Phase 3 trials, while engaging biopharma companies focused on diabetic retinopathy.



The planned Phase 3 trial is expected to be a large-scale study involving approximately 1,000 patients.

VAP-1阻害剤

対象疾患：

アルツハイマー病

代謝機能障害関連脂肪肝炎 (MASH)



VAP-1阻害剤とは

VAP-1阻害剤（別名：セミカルバジド感受性アミン酸化酵素〈SSAO〉阻害剤）は、炎症性疾患の治療において有望な新しい薬剤クラスです。

当社グループは、ぶどう膜炎、糖尿病性黄斑浮腫、ドライアイ、術後の眼内炎症などの眼疾患に対する新規治療薬の研究開発活動中に、既存のVAP-1阻害剤と比較して非常に高い選択性と強力な作用を持つ複数の新規経口VAP-1阻害剤を発見しました。当初は眼の炎症性疾患への応用を主な目的としていましたが、現在ではアルツハイマー病などの神経炎症性疾患や、代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)といった肝疾患など、アンメット・メディカル・ニーズの大きい適応症にも研究範囲を拡大しています。

また2020年12月7日、自社で発見したVAP-1阻害剤を、アメリカ国立がん研究所(NCI)の開発治療プログラム（Developmental Therapeutics Program: DTP）に提出しました。これは、NCI-60ヒト腫瘍細胞株スクリーニングにて抗腫瘍活性を評価してもらうためであり、このプログラムでは、白血病、肺がん、大腸がん、乳がん、前立腺がん、脳腫瘍、腎がん、卵巣がん、皮膚がんなど9種類・60種類のヒト腫瘍細胞株を用いて評価が行われます。

当社グループは現在、in vivo における Proof of Concept（POC）検証を目的とした疾患モデルの研究実施に向け、適切な提携先の選定を進めております。

アルツハイマー病治療候補薬：VAP-1阻害剤

主要展開国における市場規模

アルツハイマー病治療薬の市場は、2033年までに年平均成長率が米国で19.1%、EU 4カ国および英国で約8～9%、日本で10.25%と予測されています。^{*1}

当社は、アルツハイマー病治療候補薬「VAP-1阻害剤」の米国、EU 4カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン）および英国、日本での上市を目指し、76億78百万ドル（約1兆1,133億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM (Total Addressable Market) 対象市場全体	推定505億21百万ドル(約7兆3,255億円) ^{*3} 推定中等度アルツハイマー病患者 * 年間治療費
SAM (Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration 提供可能市場	94億83百万ドル(約1兆3,750億円) ^{*3} 中等度アルツハイマー病患者に対する推定最大市場普及率で試算
SOM (Serviceable Obtainable Market) 獲得見込市場	76億78百万ドル (約1兆1,133億円) ^{*3} 目標市場獲得シェア15.3%

^{*1} 出所: Source: Grand View Research, Coherent Market Insights, Mordor Intelligence, TechSci Research

^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)とは

代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)は、かつて非アルコール性脂肪性肝炎(NASH)として知られていた進行性の肝疾患であり、肥満、インスリン抵抗性、2型糖尿病、脂質異常症などの代謝異常を背景とした脂肪肝疾患の一種です。

MASHは世界人口の5～7%^{*1}に影響を及ぼしており、肥満と糖尿病の増加と深く関連しています。先進国においては、肝移植の主要な原因の一つとして急速に台頭しています。不可逆的な肝障害を防ぐためには、早期発見と適切な介入が極めて重要です。

世界的な認知度の高まりと治療法開発の進展により、MASHは現在、代謝疾患および肝疾患領域における中心的な研究・治療対象となっています。

2024年3月時点で、米国FDAはマドリガル・ファーマシューティカルズ社のRezdiffra（有効成分：レスメチロム）をMASH初の治療薬として承認しました。一方、当社が開発中のVAP-1阻害剤（前臨床段階）は、経口投与が可能でありながら高い選択性を有するという利点を持っています。

^{*1} 出所: World Journal of Gastroenterology, 2018; 24(40): 4651–4671

代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)治療候補薬：VAP-1阻害剤 主要展開国における市場規模

代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)治療候補薬の市場は、2030年までに年平均成長率が米国で26.3%、EU 4カ国および英国で約30～35%、日本で40.4%と急成長が予測されています。^{*1}

当社は、代謝機能障害関連脂肪肝炎(MASH)治療候補薬「VAP-1阻害剤」の米国、EU 4カ国（フランス、ドイツ、イタリア、スペイン）および英国、日本での上市を目指し、104億40百万ドル（約1兆5,138億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)
対象市場全体

推定2,751億13百万ドル
(約39兆8,914億円^{*3})

推定ステージF2-F3 MASH患者 * 年間治療費

SAM

(Serviceable Addressable Market) - Maximum Market Penetration
提供可能市場

137億56百万ドル(約1兆9,946億円^{*3})

ステージF2～F3のMASH患者に対する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable Market)
獲得見込市場

104億40百万ドル
(約1兆5,138億円^{*3})

目標市場獲得シェア3.8%

^{*1} 出所: Source: Grand View Research, Global Information, and Research and Markets

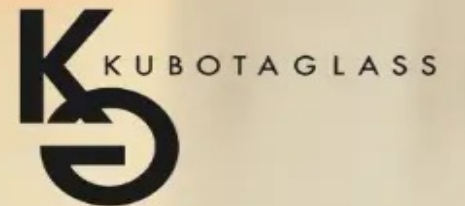
^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出



ウェアラブル近視デバイス **Kubota Glass®**

対象疾患：近視



近視の問題に取り組む背景

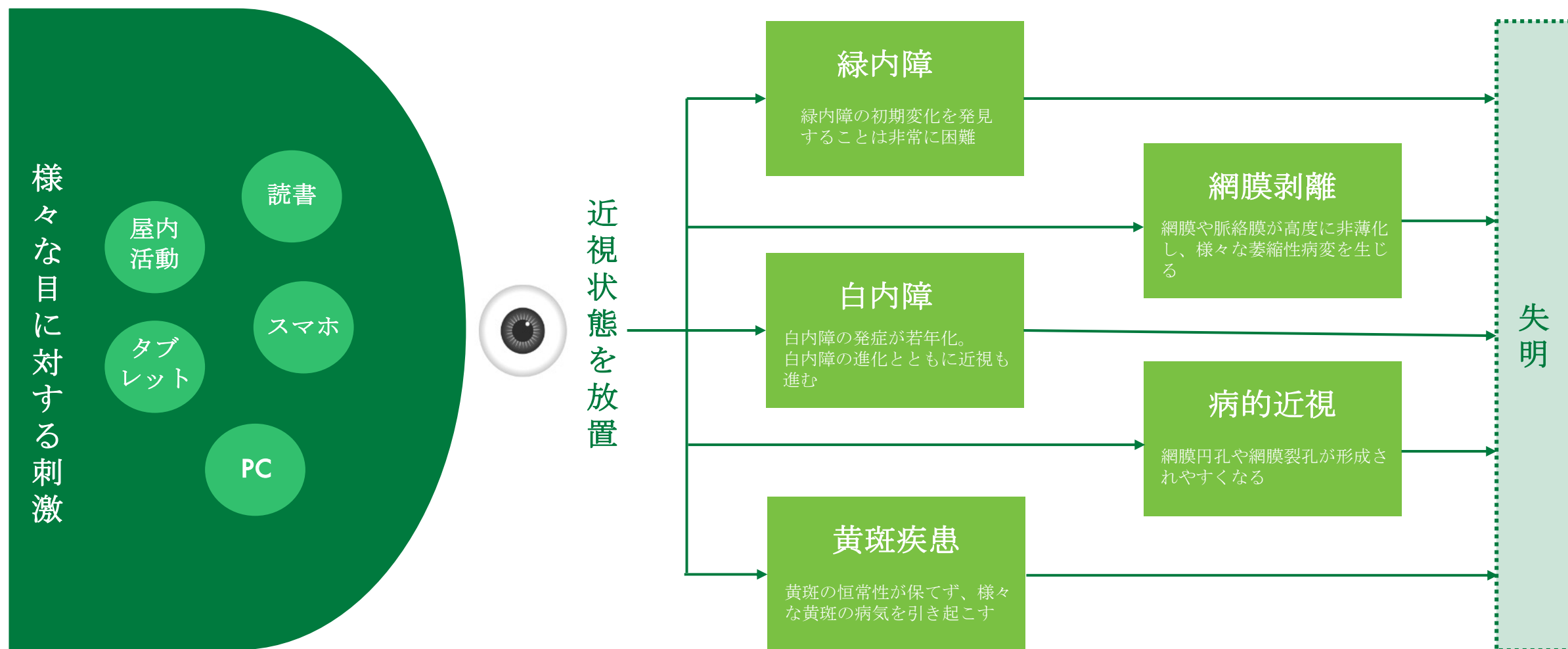
近視は、屈折性近視、軸性近視、偽近視、核性近視などに区分されますが、その多くは軸性近視と診断され、眼軸が伸展することによりおこるとされています。眼軸長が伸びると、眼球の中で焦点が網膜より手前に位置づけられるために、遠くが見えにくくなります。アジア諸国、特に中国では若年層の近視が社会問題となっており、中国の10代および若年成人の約90%が近視であるという報告もあり、50年前と比較すると4倍以上に増加しています。このような背景から、中国政府は近視削減目標を定めた国家計画を策定し、2030年までに高校生までの近視発症割合を70%以下にすることを目標として、近視予防・対策に取り組んでいます。

現在は、メガネやコンタクトレンズ、屈折矯正手術により、光の屈折を矯正し、焦点を網膜に合わせることが一般的であり、伸展した眼軸長を短縮させるような根本的な治療法は見つかっていません。



近視のリスク

強度近視は、より重篤な眼疾患の合併が懸念される。



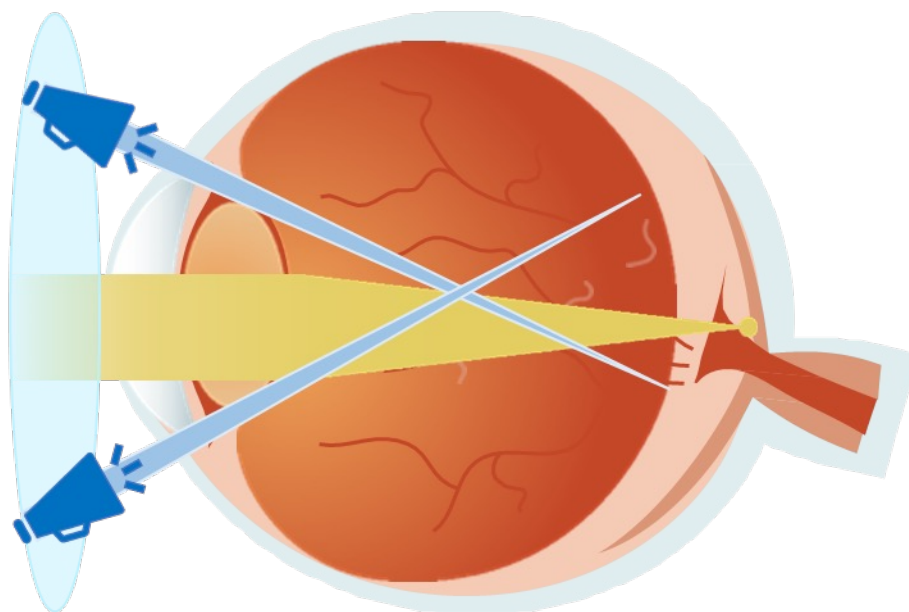
Kubota Glass®の独創的な技術

アクティブステイミュレーション

Kubota Glass®のアクティブステイミュレーション技術は、網膜に人工的な光刺激を能動的に与えて近視の進行の抑制、治療を目指す当社独自の技術です。

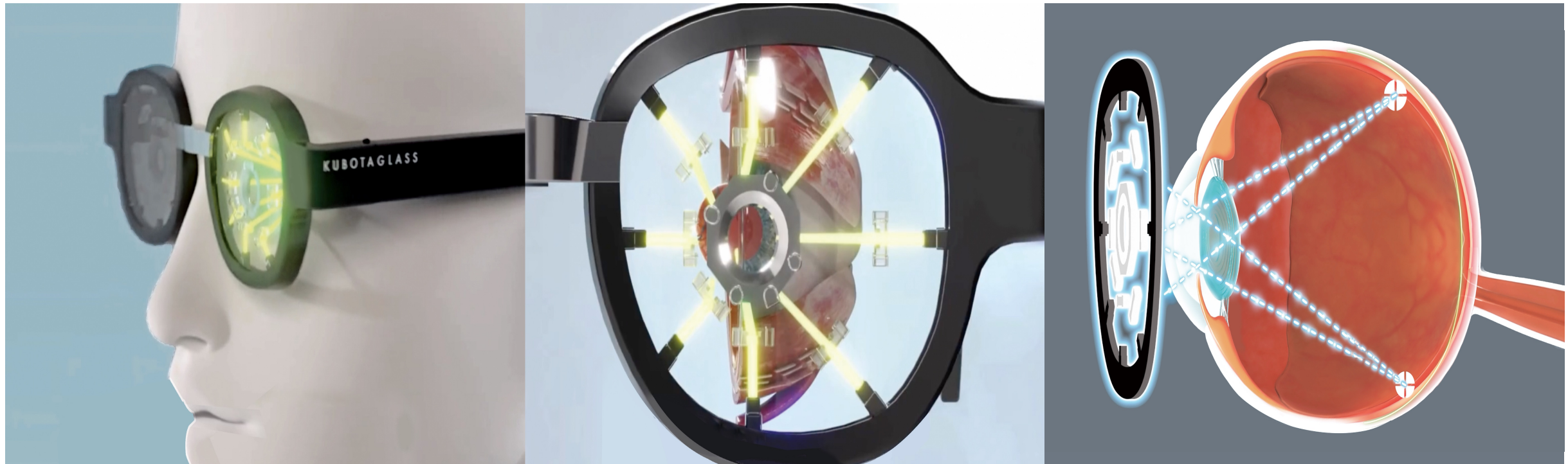
網膜に光刺激を与えて近視の進行の抑制、治療を目指す技術は既に実用化されており、米国ではCooperVisionのMiSight® 1 Dayという製品が近視抑制効果があるとして米国食品医薬品局(FDA)より認可を受け、販売されています。これらの製品は、多焦点コンタクトレンズの仕組みを応用し、自然光をぼかして網膜周辺部に刺激を与えることで、単焦点コンタクトレンズと比較して、近視の進行を抑制することを証明したコンタクトレンズです。

一方、Kubota Glass®はこの理論的根拠を元に、AR技術を用いて網膜刺激に効果的な映像を能動的に網膜周辺部に投影することにより、従来の自然光を用いた軸性収差補正眼鏡よりも短時間の使用でより自然な見え方を維持しながら、高い近視抑制効果を実現することを目指しています。



Kubota Glass®の特長：近視性デフォーカス映像の投影

Kubota Glass®は、目が本来持っている「周辺部網膜がピントが合う位置まで移動する」習性を利用したARデバイスです。網膜の手前に高コントラストな近視性デフォーカス映像を投影することで、網膜を前方に移動させ、眼軸の伸長を抑制して近視の改善を目指します。



マイクロLED から太陽光に近い光を照射し周辺部網膜の手前に結像

Kubota Glass®の特長：AR技術による能動的アプローチ

Kubota Glass®

Actively-Stimulated Myopic Defocus

独自のARテクノロジーで能動的に近視性デフォーカス映像を生成・投影

1日わずか1-2時間の
屋内使用で近視抑制効果
を期待できる。



従来の受動的近視抑制 レンズ

Passively-Stimulated Myopic Defocus

物理的なレンズ構造で
自然光を受動的に制御

1日最低10時間以上の
装用が必要。
(日中の活動中は常
に装用)



装着した直後は、ハイコントラストなマルタ十字の映像がレンズを通して視界に現れますが、数十分経つと脳がその映像を認識しなくなるため、視界から消えて見えなくなります。そのため、違和感なく普段通りの生活を送ることが可能となります。



- 重量は40gと軽いので、お子様にも負担なく装用可能
- コンタクトをつけたままの使用や、アトロピン等の近視抑制治療と併用可能

Kubota Glass®の特長：目に対する安全性

Kubota Glass®の光放射は、ISO 15004-2の規格に基づき、目への悪影響が無い事が証明されています。

*グループ1: 光ハザードが潜在的に存在しない眼光学機器

パラメーター		波長範囲 [nm]	*グループ1の 制限	測定された実行 放射照度／標的組織における実行 放射照度	測定値 vs グループ1限界値
角膜・水晶体での 紫外光による放射照度	ES-CL 重み付け角膜およびレンズ状紫外線放射照度	250 - 400	0,13 $\mu\text{W cm}^{-2}$ ←	< $1,0 \cdot 10^{-3} \mu\text{W cm}^{-2}$	限度値の1/100未満
	EUV-CL 重み付けなし角膜およびレンズ状紫外線放射照度	360 - 400	333 $\mu\text{W cm}^{-2}$ ←	< 10 $\mu\text{W cm}^{-2}$	限度値の1/30未満
角膜・水晶体での 赤外光による放射照度	EIR-CL 重み付けなし角膜およびレンズ状赤外線放射照度	770 - 2,500	6,67 mW cm^{-2} ←	< 0,1 mW cm^{-2}	限度値の1/60未満
前眼部での可視光・赤外 光による放射照度	EVIR-AS 重み付けなし前眼部可視および赤外線放射照度	380 - 1,200	1,33 W cm^{-2} ←	$3,4 \cdot 10^{-5} \text{W cm}^{-2}$	限度値の1/10,000未満
網膜での可視光・赤外光 による熱放射照度	LVIR-R 網膜可視・赤外線放射熱ハザード：重み付け網膜可視・赤外線放射熱放射照度	380 - 1,400	2 $\text{W sr}^{-1} \text{cm}^{-2}$ ←	$4,7 \cdot 10^{-4} \text{W sr}^{-1} \text{cm}^{-2}$	限度値の1/1,000未満

Kubota Glass®の科学的エビデンス

短時間装用試験

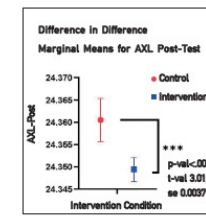
米国フロリダ州ジャクソンビルにおけるパイロットスタディ（2024）

この試験では短時間で眼軸を10 μ m 短縮する効果を確認。薬剤不使用の革新的アプローチとして、目の健康維持における新たな選択肢の可能性を示しました。

近視抑制効果

眼軸長差：**-11 μ m**（同一被験者の治療眼と対照眼の比較）

前向きランダム化二重盲検パイロット試験：8～24歳の近視患者15名/2時間のデフォーカスセッションを7回実施。装着型眼鏡装置を使用。



長期観察試験

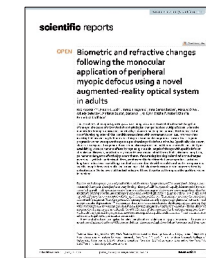
米国におけるパイロットスタディがNature社の「Scientific Reports」掲載（2022）

世界的に権威あるNature社が発行しているScientific Reports誌にクボタメガネ・テクノロジー®の臨床試験の結果が掲載され、一定期間、全てのジャーナルを対象に追跡された441,022本の論文の中で、閲覧数上位5%以内（17,921位）にランクインされました。

近視抑制効果

中心球面等価屈折度差：**+0.816D** 眼軸長差：**-72.6 μ m**

前向き非盲検対照眼付き試験：18～35歳の近視成人患者7名/4ヶ月間の追跡調査。短期試験結果を年間効果として換算した推定値。ANWAR 光学システム（非装着型 AR 装置）を使用。



中国医薬大学（台湾）における臨床試験（2024 – 2025）

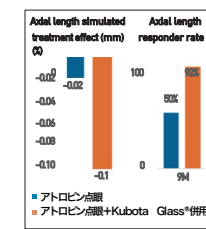
Kubota Glass®とアトロピン点眼薬の併用試験において、若年層でも効果が見られ既存治療にプラスできる新しい近視ケアとして注目されています。

近視抑制効果

眼軸長差：**-80 μ m**（アトロピン点眼薬のみのグループとKubota Glass® 併用グループの比較）

反応率：**92%^{*1}**

前向き非盲検対照試験：8～12歳の小児近視患者9名（治療群6名、対照群3名）/9ヶ月間の追跡調査を年間効果として換算した推定値。装着型眼鏡装置を使用。^{*1} 反応率は9ヶ月時点での数値



在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO®

PBOS（対象疾患：ウェット型加齢黄斑変性、糖尿病黄斑浮腫）

SS-OCT（対象疾患：宇宙飛行関連神経眼症候群）

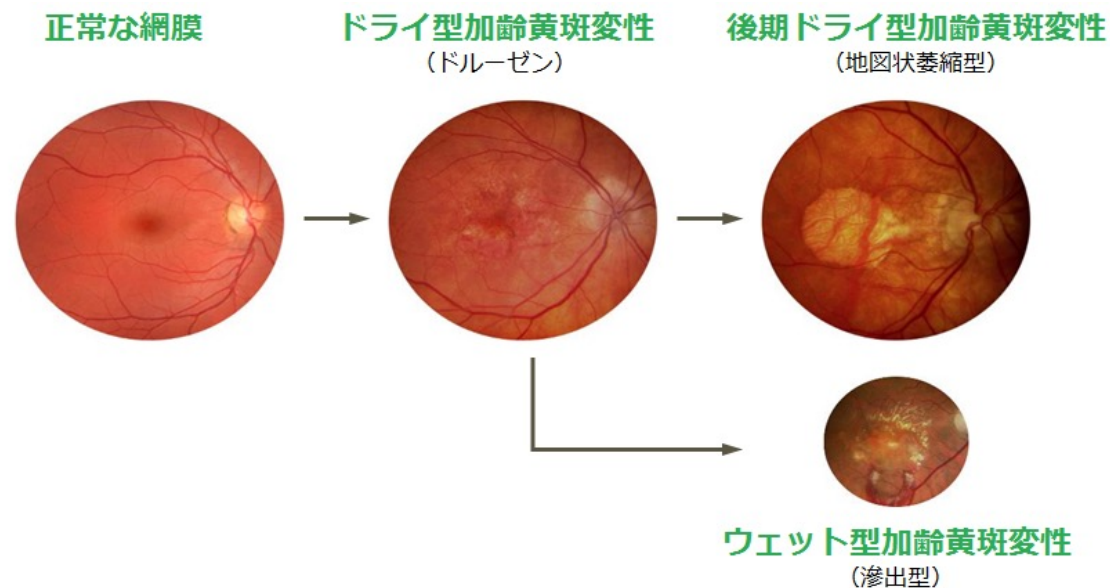


加齢黄斑変性とは

加齢黄斑変性とは加齢とともに網膜に有害代謝産物が蓄積され、網膜で最も重要かつ視力を司る黄斑が損傷する病気です。また主要な失明原因と言われ高齢化に伴い増加しており、患者数は全世界で1億3,800万人と推定されており、欧米では50歳以上の人の失明原因の一位と言われています。

加齢黄斑変性にはドライ型とウェット型の2種類があり、患者数の約90%がドライ型、約10%がウェット型です。ドライ型の患者のうち約15%が、黄斑部が地図状に萎縮する症状に悪化し、患者数で見るとウェット型加齢黄斑変性(Wet-AMD)とほぼ同じ規模です。

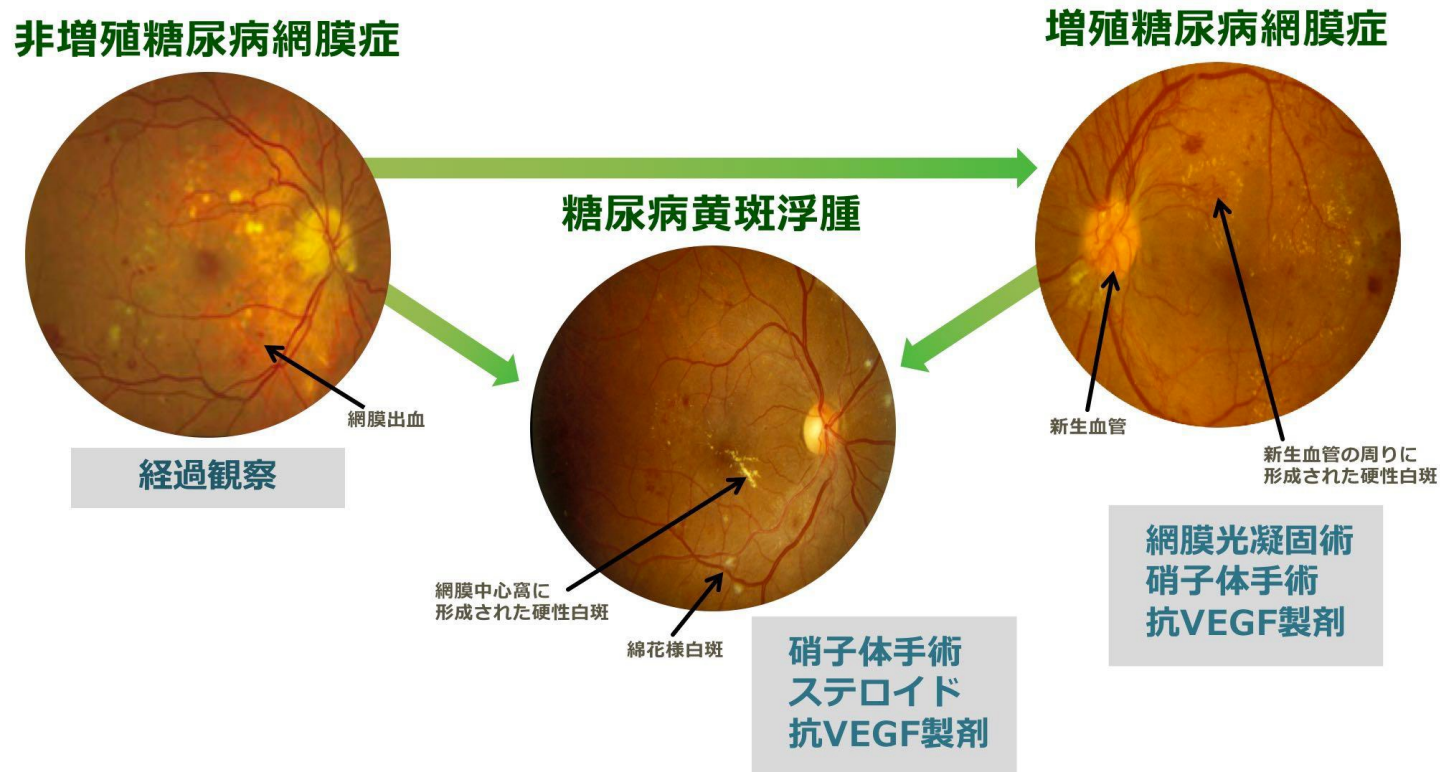
Wet-AMDは新生血管の増殖や成長を促進する因子である血管内皮細胞増殖因子(VEGF)を抑制する薬剤を眼内に注射する抗VEGF療法が主流です。しかしながら抗VEGF療法では眼内に定期的に注射を繰り返す必要があることもあり、身体的負担のかからない低侵襲な治療法の確立が求められています。



増殖糖尿病網膜症・糖尿病黄斑浮腫とは

糖尿病網膜症は成人が失明する主な原因のひとつであり、視野の中心部が黒ずんだり、ぼやけたりする視野障害や視力低下が特徴です。進行性疾患であり、比較的軽症の段階である非増殖糖尿病網膜症と、より重度な増殖糖尿病網膜症があり、このどちらの段階でも糖尿病黄斑浮腫を発症する恐れがあります。

米国眼科学会(AAO)では、1型糖尿病を15年程患っている約80%の患者が糖尿病網膜症を発症していると推定しています。病気の進行を抑制する抗VEGF療法などの治療法はありますが手術や眼球への注射が必要であり、身体的負担のかからない低侵襲な治療法の確立が求められています。



在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO®（加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫）：主要展開国における市場規模

加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫薬の市場は、2030年までに年平均成長率が世界全体で約30%と急成長が予測されています。

*1

当社は、加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫薬を対象とした「遠隔医療眼科網膜モニタリング機器 eyeMo®」の米国、欧州、日本での上市を目指し、3億6百万ドル（約444億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。*1



*1 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

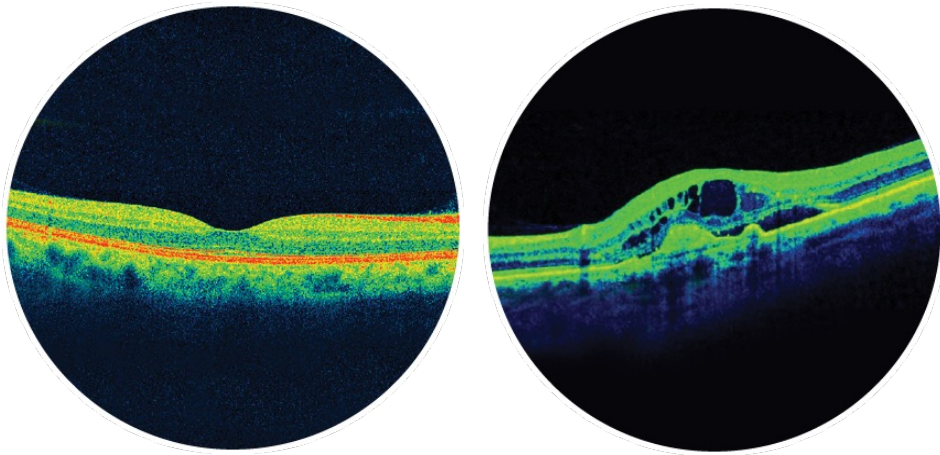
*2 1ドル145円で算出

在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO®：ウェット型加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫の網膜血管新生のモニタリング

光干渉断層計技術(OCT技術)を用いて開発している超小型モデルの在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器(PBOS)は、患者が自分で検査をするためデバイスで、抗VEGF療法と比べ低侵襲な治療法です。ウェット型加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫の治療時にリアルタイムで網膜血管新生（網膜の血管が異常に増殖する現象）のモニタリングを提供。

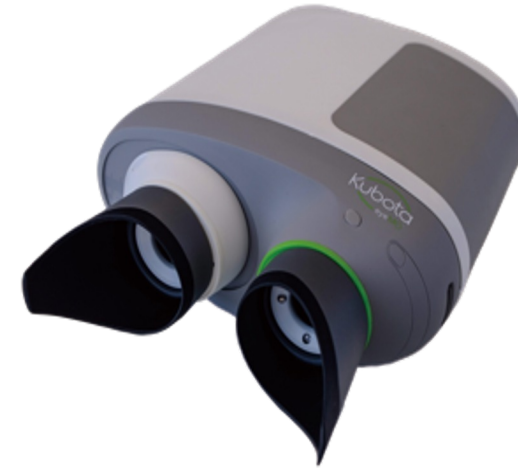
網膜の構造や視力の変化といった病状の経過を患者が検査をし、医師が遠隔で診断できるシステムを確立することにより、個別の患者に適した眼科治療の実現を目指しています。

光干渉断層計 (OCT: Optical Coherence Tomography)



光の干渉性を利用して、測定対象の内部構造を非侵襲で高分解能に画像化する技術。主に医療分野で、網膜の断層画像撮影や、眼底疾患の診断などに用いられる。

在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 (PBOS: Patient Based Ophthalmology Suite)



OCT技術を用いて開発している超小型モデルのPBOS。ウェット型加齢黄斑変性及び糖尿病黄斑浮腫の治療時の網膜血管新生のモニタリングの提供を目指しています。

在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器 eyeMO® : ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターおよびシンガポール国立病院との共同研究

- ・ 2023年以降、複数の医療・研究機関と在宅・遠隔眼科医療用網膜モニタリング機器(PBOS)の共同研究を実施中。
- ・ 今後は共同開発による実用モデルの検証を継続するとともに、パートナー企業の発掘と商業化を模索。

2023年1月～



ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターとのPBOS及びOCTに関する物質移転および共同研究契約

本研究は、完全子会社であるKubota Vision Incを通じて米国のハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センターテレメディシン部門の共同責任者であるパオロ・S・シルバ博士が主導し、PBOSの糖尿病黄斑浮腫の症例の検出能力の実用性評価と市販OCTとの比較試験の2つの臨床研究を実施しています。

ステータス :

- ・ フェーズ1 (院内) 被験者募集完了
- ・ フェーズ2 (処方) 臨床試験実施中

ハーバード大学医学部附属ジョスリン糖尿病センター:
世界最古で世界最大の糖尿病センターで、ハーバード大学医学大学院と提携しています。

2023年8月～



シンガポール国立病院(NUH)とのPBOSに関する共同研究契約

本研究は、完全子会社であるKubota Vision Incを通じて、シンガポール国立病院(NUH)眼科部門ヘッドのヴィクター・コフ准教授が主導し、NUHでの慢性眼疾患のモニタリングに適した革新的でアクセスしやすい眼科ケアモデルを開発を目指しています。

ステータス :

- ・ 被験者募集完了
- ・ 臨床試験スタート

シンガポール国立病院(NUH):
シンガポール保健省(MoH)傘下の公的ヘルスクラスターMOHホールディングス(MOHH)の医療機関グループであるシンガポール国立大学保健機構 (NUHS)内の最大規模の総合病院です。

NASAディープスペースミッション 超小型眼科診断装置の開発受託契約を締結

超小型眼科診断装置で宇宙飛行中の宇宙飛行士の神経眼症候群をモニタリング

2019年3月、TRISHと超小型眼科診断装置(SS-OCT)の開発受託契約を締結（開発費用はTRISHを通じてNASAより全額助成）
SS-OCTは高速波長掃引光源を用いる第三世代の光干渉断層計(OCT)デバイスです。

現在、国際宇宙ステーション(ISS)で使われている市販のOCTはポータブルではなく、宇宙飛行に起因する神経眼症候群による解剖学的影響の診断や経過観察には必要のない機能が搭載されているなど、システムが複雑で機器自体も大型であることも課題となっており、また耐放射線性ではないため月や火星などへの宇宙飛行時に使用するには適さないとされています。

今回の共同開発の背景には、長期的な宇宙飛行を経験した宇宙飛行士の約69%（2020年1月時点）が、視力障害や失明の恐れがある神経眼症候群を患っているという研究報告を契機に、宇宙飛行中にリアルタイムで網膜の状態を計測することへの需要の高まりがあり、今回の開発受託契約の締結となりました。



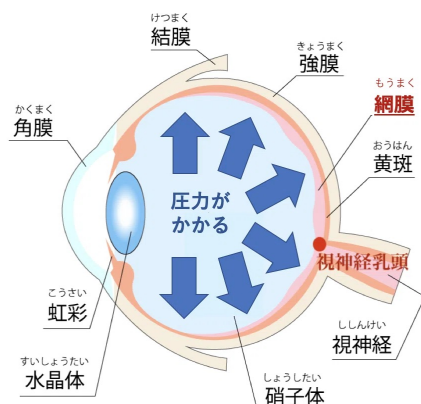
TRISH: アメリカ航空宇宙局(NASA)との共同契約を通じた提携により、NASAのディープスペースミッションにおける、宇宙飛行士の精神的、身体的健康を保護、維持するための革新的な技術に資金供与を行うコンソーシアム。

超小型眼科診断装置：宇宙飛行関連神経眼症候群における視神経乳頭浮腫のモニタリング

宇宙飛行に起因する神経眼症候群は、宇宙飛行関連神経眼症候群(SANS)と言われ、宇宙飛行士が長期間の宇宙滞在中に経験する可能性のある視力低下、眼球後部の形状変化、視神経乳頭浮腫などの変化を指します。

当社グループがOCT技術を用いて開発している超小型眼科診断装置(SS-OCT)は、アメリカ航空宇宙局(NASA)が求める視神経乳頭浮腫のモニタリング、超小型、耐放射線、低消費電力、シンプルな操作性の5つの条件を満たすプロトタイプを設計しており、宇宙飛行中の宇宙飛行士の網膜の状態を撮影できる新たなOCT機器として、NASAで活用されることを目指しています。

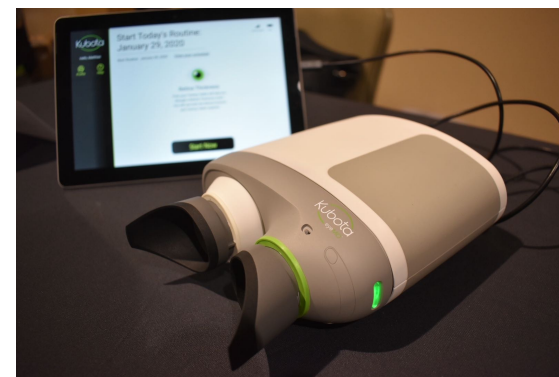
SANSの主な兆候



- ・ 視神経が部分的に腫れる「視神経乳頭浮腫」
- ・ 眼球の後ろが平たくなる「眼球後部平坦化」
- ・ 眼球後方で網膜の外側にある脈絡膜がしわしわになる「脈絡膜皺壁」
- ・ 眼底に白いシミができる「綿花状白斑」
- ・ 視点の焦点を合わせる屈折異常

超小型眼科診断装置

(SS-OCT: Swept-Source Optical Coherence Tomography)



SS-OCTプロトタイプ

OCT技術を用いて開発しているSS-OCT。耐久性と耐放射線性を備え、ロケットに搭載するにあたっては、小型軽量であることを含め、宇宙飛行中の宇宙飛行士の網膜の状態を撮影できる新たなOCT機器として、NASAで活用されることを目指しています。

NASA/TRISHとのSS-OCTプロジェクト（フェーズ1） 開発進捗会議

宇宙飛行関連神経眼症候群による視神経乳頭浮腫が観察できる可能性が世界で初めて示される



TRISHメンバー:

TRISHはNASAからの委託で、長期宇宙旅行時の人体へのリスク軽減のための研究開発の促進を目指す共同事業体で、ベイラー医科大学がリーダーとなり、カリフォルニア工科大学とマサチューセッツ工科大学(MIT)がメンバーです。

会議参加者

- ・ 窪田製薬ホールディングス株式会社 CEO 窪田良
- ・ NASA 宇宙飛行関連神経眼症候群(SANS) チーム
- Translational Research Institute for Space Health (TRISH) 代表者
- Web Vision Technologies 代表者

会議の内容

- 1) 現状の確認（フェーズ1の開発状況）
 - ・ SS-OCTの仕様の確認
 - ・ プロジェクトの進捗状況に関する最新情報の提供
 - ・ 今後の課題と、想定される結果の確認
- 2) フェーズ1の最終計画の確認
 - ・ テスト計画
 - ・ フェーズ1開発の最終段階についての議論
- 3) ロケットに搭載可能になるまでの計画の確認
 - ・ 当社グループの構想の提示
 - ・ NASAがSS-OCTに期待する項目の確認
 - ・ 必要リソースの確認

NASA/TRISHとのSS-OCTプロジェクト（フェーズ1） 開発進捗会議



William J. Tarver, MD MPH FAsMA, SANS Clinical Lead – CNS NASA Flight Surgeon コメント

御社が開発した SS-OCT デバイスは、小型でありながら操作は簡単で、データ処理が早いことに大変驚きました。このようなデバイスであれば、NASA が懸念している、ミッション中に及ぼす宇宙飛行士の眼球への影響を研究するために、まずはISSで大いに役立つと信じています。

（注釈:有人火星探査等の長期宇宙飛行の前に、ISS にて本デバイスの有効性を確認する必要があります。）



CAPT Tyson Brunstetter, OD, PhD, MBA, FAAO, FAsMA MSC, U.S. Navy, DoD Aerospace Medical Liaison, NASA SANS Clinical Lead - Eyes/Vision コメント

本会議を終えて非常に満足しています。御社の SS-OCT デバイスは、フェーズ1の仕様条件を満たしているだけでなく、期待以上の完成度でした。商業化された製品のように見た目も洗練され、軽くて持ちやすい、まるで双眼鏡を覗くような使い心地でした。こんなに早い段階で、ここまでのデバイスを作り上げる御社が、フェーズ2でどんな仕上がりを見せてくれるのか大変楽しみです。

免責事項

本資料は関係情報の開示のみを目的として作成されたものであり、有価証券の取得または売付けの勧誘または申込みを構成するものではありません。本資料は、正確性を期すべく慎重に作成されていますが、完全性を保証するものではありません。また本資料の作成にあたり、当社に入手可能な第三者情報に依拠しておりますが、かかる第三者情報の実際の正確性および完全性について、当社が表明・保証するものではありません。当社は、本資料の記述に依拠したことにより生じる損害について一切の責任を負いません。また本資料の情報は、事前の通知なく変更される可能性があります。

本資料には将来予想に関する見通し情報が含まれます。これらの記述は、現在の見込、予測およびリスクを伴う想定（一般的な経済状況および業界または市場の状況を含みますがこれらに限定されません）に基づいており、実際の業績とは大きく異なる可能性があります。今後、新たな情報、将来の事象の発生またはその他いかなる理由があっても、当社は本資料の将来に関する記述を更新または修正する義務を負うものではありません。

リスクや不確実性には、一般的な業界ならびに市場の状況、金利、通貨為替変動といった一般的な国内および国際的な経済状況が含まれます。

お問い合わせ先
広報・IR 担当
(代表) 03-6550-8928



FINDING CURE FOR BLINDNESS