

2016年5月26日

各 位

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

ドライ型加齢黄斑変性治療薬候補「エミクススタト塩酸塩」の
臨床第2b/3相試験におけるトップラインデータについて

SEATTLE 試験の主要評価項目において地図状萎縮病変の進行抑制に差が認められず

失明や視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索および開発に取り組むアキュセラ・インク（本社：米国シアトル、会長、社長兼最高経営責任者：窪田良、以下「当社」）は、本日、地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性を適応症とする「エミクススタト塩酸塩」（以下、「エミクススタト」）の臨床第2b/3相試験におけるトップラインデータを発表いたします。

本臨床試験は、508例の地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象に24ヶ月間にわたり実施されました。プラセボ群は年に1.69mm²の病変の進行があったのに対し、エミクススタト投与群は用量別に、10mgは年に1.84mm²、5mgは1.83mm²、2.5mgは1.69mm²の病変の進行があったことから、エミクススタト投与群とプラセボ群の萎縮病変の進行に差は認められず、主要評価項目を達成するには至りませんでした。24ヶ月目の通常の冷光下の最高矯正視力において、エミクススタト投与群とプラセボ群の間でベースライン（治験前）からの変化に有意差はありませんでした。特定の遺伝子プロファイルを有する患者には、エミクススタトの有効性が数値上確認されました。

マイアミ大学バスコム・パルマー・アイ・インスティテュートで眼科学教授を務めるフィリップ・ローゼンフェルド博士は、次のように述べています。「この度の臨床試験は、患者の方々にとっても医師にとっても残念な結果となりました。」

SEATTLE 試験における2年間の臨床データが示す有害事象は、以前に行われたエミクススタトの臨床試験に類似したもので、エミクススタト投与群とプラセボ群に、重篤な副作用は認められませんでした。

眼科医であり、当社の会長、社長兼最高経営責任者である窪田良博士は、次のように述べています。「地図状萎縮における臨床試験データを綿密に検証したうえで、地図状萎縮を伴う加齢黄斑変



性に対するエミクススタットの今後の計画について検討してまいります。そして、引き続き、技術導入の推進および自社研究開発の強化に邁進いたします。」

当社はこれより数ヶ月にわたり、共同開発パートナーである大塚製薬株式会社と、この度のSEATTLE 試験における臨床試験データの分析を行ってまいります。分析結果を踏まえ、地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性に対するエミクススタットの今後の計画を検討し、その結果については適宜開示してまいります。

また当社は、エミクススタットにおいて、増殖糖尿病網膜症に対する試験的研究を継続し、スターガート病につきましても有効性を検証してまいります。

なお、2016年12月期の業績に対する影響につきましては今後検証を実施し、重大な影響がある場合には速やかに開示してまいります。

以上

エミクススタット塩酸塩について

エミクススタットは経口投与可能な非レチノイド系の低分子化合物で、脳に映像を認識させるために光を電気信号に変える働きをする「視覚サイクル」に不可欠な酵素であるRPE65を抑制します。エミクススタットは当社と大塚製薬株式会社（以下、「大塚製薬」）が共同開発しており、米国においては共同販売し、日本を含むアジア、太平洋、中東、および北アフリカの一部は大塚製薬が独占販売権を保有し、欧州、南米、アフリカにおいては当社が独占販売権を保有しています。

SEATTLE 試験 (The Safety and Efficacy Assessment Treatment Trials of Emixustat Hydrochloride study) について

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

地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性について

加齢黄斑変性とは、中心視力の低下を引き起こし、深刻なケースにおいては失明にいたる両眼性の網膜疾患です。地図状萎縮は、加齢黄斑変性の進行期の症状で、視機能の重要な役割を有する網膜の中心部（黄斑）の視細胞が損傷し萎縮します。中心視力が著しく低下するため、地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性の患者からは、読み書きや顔の認識が困難になる等の報告がされています。現在、ドライ型にはFDAの承認を受けて上市されている薬剤が存在しないため、アンメット・メディカル・ニューズとして対応が求められています。加齢黄斑変性は、米国においては50歳以上の中途失明の主要原因であり、世界で1億3500万人が罹患し、地図状萎縮を伴う罹患患者数は900万人と報告されています*¹。

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



ACUCELA

in it for sight

アキュセラ・インク (Acucela Inc.) について

アキュセラは、臨床開発段階の眼科医療ソリューション・カンパニーです。失明や視力低下をまねく眼疾患に対する治療、または疾患の進行を遅らせる革新的な治療薬・医療技術の探索および開発に取り組んでいます。当社独自の視覚サイクルモジュレーション技術に基づく地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性の治療薬候補であるエミクススタトの共同開発を大塚製薬株式会社と進めております。アキュセラは、白内障や老視(老眼)の薬物治療を目的としたラノステロールの研究開発、網膜色素変性症における視機能再生を目指すオプトジェネティクスに基づく遺伝子療法の研究開発を手掛けております。エミクススタトにおいては、増殖糖尿病網膜症に対する治療薬候補として臨床第2相試験を実施するほか、スターガート病等への適応拡大を検討しています。

(ウェブサイト：<http://www.acucela.jp>)

免責事項

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

本資料の情報は、事前の通知なく変更される可能性があります。

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

「Acucela」およびアキュセラのロゴは、様々な法域における当社の登録商標または商標です。