

平成 28 年 8 月 5 日

各 位

会 社 名 アキュセラ・インク (Acucela Inc.)
代 表 者 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 ベーカー&マッケンジー法律事務所
(外国法共同事業)
弁護士 高橋 謙 (TEL：03-6271-9900)

今後の戦略的事業計画および業績予想の修正に関するお知らせ

アキュセラ・インク（以下「当社」）は、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。

2015年3月に開示した2014年12月期決算短信等において、当社は、革新的な眼科領域に特化したポートフォリオを構築していくために、自社技術の開発推進に加え、率先して外部とのパートナーシップ、インライセンスおよびM&Aの機会を追求することに重点を置いた戦略的事業計画を発表し、実行してきました。

2016年5月26日に、当社は、大塚製薬株式会社（以下「大塚製薬」）と開発を進めてきた地図状萎縮を伴うドライ型加齢黄斑変性患者を対象とした「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2b/3相試験のトップラインの結果が主要評価項目を達成しなかったことを開示いたしました。その結果、当社は2016年6月13日に、大塚製薬より、当社との間で締結していたエミクススタト塩酸塩契約およびOPA-6566契約を完全に終了するとの書面による通知を受領しました。その後、それぞれの契約の条項に基づき、2016年6月27日付で、当社と大塚製薬との間のエミクススタト塩酸塩契約およびOPA-6566 契約が終了いたしました。

当社は今後も革新的な眼科領域に特化したポートフォリオを構築していくために、以下の戦略的事業計画に基づく開発プログラムを遂行してまいります。

なお、かかる戦略的事業計画に基づき、また最近の業績動向を踏まえ、当社は、平成28年3月9日に公表した業績予想を下記の通り修正いたしましたのでお知らせいたします。

記

1. 当社の戦略的事業計画に関して

当社の戦略的事業計画は、自社の視覚サイクルモジュレーションの専門知識および眼科領域での開発ノウハウを活用し、革新的な眼科製品の開発パイプラインを拡大することに焦点を当てています。戦略的事業計画の一部として、外部とのパートナーシップ、インライセンスおよびM&Aの機会を追求することに重点を置いています。

現在進めている戦略的事業計画の主な開発プログラムは、以下のとおりです。

- ・ **「エミクススタト塩酸塩」の治療的有効性を確立すること¹** 当社の「エミクススタト塩酸塩」は、特定の網膜疾患を治療し、その進行を遅らせることを目的とし、特に網膜内の色素上皮細胞の主要な酵素を標的とするよう設計されています。当社は現在、2016年第2四半期に開始した糖尿病網膜症患者に対し「エミクススタト塩酸塩」の臨床第2相試験を実施しております。また、2017年初旬までに、スターガート病患者に対する「エミクススタト塩酸塩」の臨床試験を開始する計画です。当社は、その他の眼科疾患の治療のための「エミクススタト塩酸塩」の臨床試験を開始することについても検討しております。
- ・ **ラノステロールの治療的有効性を確立すること** ラノステロールは、ヒトの体内で自然発生する生体内化合物であり、非臨床試験（動物による基礎試験）において、白内障の症状である水晶体の混濁を解消させることが確認されています。当社は現在、非臨床試験およびヒトに対するラノステロールの眼科製剤の開発を進めており、2017年下旬または2018年初旬までに、白内障患者に対する臨床第1/2相試験を開始する計画です。
- ・ **オプトジェネティクスの治療的有効性を確立すること** 当社は、英国マンチェスター大学より、網膜色素変性症により光受容体を損傷した患者の視力を回復するために特定の網膜細胞におけるヒトロドプシンを形質導入する遺伝子治療技術のライセンスを取得しました。当社は現在、異なる遺伝子およびウイルス構成を設計・テストしており、2018年において、わずかな視覚機能しか持たない網膜色素変性症患者に対する臨床第2相試験の開始を目指しています。
- ・ **自社研究、M&Aおよびその他パートナーシップまたはインライセンス機会を通じて、眼科領域における開発パイプラインを拡大すること** 当社は、2016年以降も継続して自社による創薬開発を進め、また新たな眼科製品候補に対する権利をライセンスまたはその他の方法により取得する予定です。

今後の見通し

大塚製薬とのエミクススタト塩酸塩契約終了に伴い、短期的には当社の収益は大幅に減少することが予想されます。なお、戦略的事業計画に基づいた、複数の適応症を対象とした製品候補の開発ならびにインライセンス取引の実行による前払金およびマイルストーン支払いにより、研究開発費用が近い将来において増加する可能性があると予想しています。また一般管理費においては、短期的には、提案されている本社移転に関わる費用が増加すると予想しています。

注1：エミクススタト塩酸塩契約に基づき当社が大塚製薬に付与した権利は、契約終了日付で、当社に返還されました。また、当該契約に基づき、両社は契約終了後も一定の義務を有します。これらの一定の義務のひとつとして、大塚製薬は、契約終了通知日の翌日から6か月間にわたり、開発活動の終了に関する一定の費用に対する責任を引き続き有します。契約終了日付で、大塚製薬は、「エミクススタト塩酸塩」を開発、製造または販売するために必要または有用な、同社の特定の知的財産およびデータに関する無期限かつ完全払込済の非排他的ライセンス（サブライセンス

権を含みます。)を当社に対して付与しました。なお、エミクススタト塩酸塩契約にしたがい、当社は、契約終了日後において、当社が「エミクススタト塩酸塩」の開発および商業化を継続することにより承認される製品の売上高に基づき、大塚製薬に対し一桁前半のパーセンテージに相当するロイヤリティを支払う必要があります。かかるロイヤリティの金額は、契約終了日前に大塚製薬がすでに資金提供済みの開発費用および研究費用の合計金額(利息を含みます。)を上限とします。

2. 2016年12月期の業績予想の修正(2016年1月1日～2016年12月31日)

(単位：%および1株当たり金額(米ドル、(円))を除き、千米ドル(千円))

	提携からの収益		営業損失		税引前当期純損失	
	(最低)	(最高)	(最低)	(最高)	(最低)	(最高)
前回発表予想(A)	25,000 (2,572,750)	27,500 (2,830,025)	△37,440 (△3,852,950)	△36,940 (△3,801,495)	△36,940 (△3,801,495)	△35,740 (△3,678,003)
今回発表予想(B)	8,300 (854,153)		△38,300 (△3,941,453)		△36,900 (△3,797,379)	
増減額(B-A)	△16,700 (△1,718,597)	△19,200 (△1,975,872)	△860 (△88,503)	△1,360 (△139,958)	40 (4,116)	△1,160 (△119,376)
増減率(%)	△66.8%	△69.8%	—	—	—	—

	当期純損失		1株当たり当期純損失 ^②	
	(最低)	(最高)	(最低)	(最高)
前回発表予想(A)	△36,940 (△3,801,495)	△35,740 (△3,678,003)	△0.99 (△102)	△0.96 (△99)
今回発表予想(B)	△36,900 (△3,797,379)		△0.98 (△101)	
増減額(B-A)	40 (4,116)	△1,160 (△119,376)	0.01 (1)	△0.02 (△2)
増減率(%)	—	—	—	—

(1) 当社の業績予想は米ドルで行っております。2016年12月期の業績予想について、下段の括弧内に表示されている金額(千円、ただし1株当たり金額に関しては、円)は、便宜上、2016年6月30日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客直物電信売買相場の仲値に基づき1米ドル=102.91円で換算された金額であります。

(2) 前回発表の2016年12月期の1株当たり当期純損失予想では、予想される加重平均株式数である37,389,967株を用いて計算したのに対し、今回発表予想では、37,508,741株を用いました。加重平均株式数の増加は、その期間に行使されたストックオプションおよび権利が確定した制限付株式によるものです。

(3) 上記の「最低」における数値は、提携からの収益、営業損失、税引前当期純損失および当期純損失の予想値のレンジの最低値を示しており、「最高」における数値は、提携からの収益、営業損失、税引前当期純損失および当期純損失の予想値のレンジの最高値を示しております。

修正の理由

提携からの収益

今回発表予想数値は、前回発表予想数値を 16.7 百万米ドル（1,718.6 百万円）から 19.2 百万米ドル（1,975.9 百万円）下回った主な要因は、大塚製薬との契約の終了に伴い、これまで収益として見込んでいたドライ型加齢黄斑変性に関わる「エミクススタト塩酸塩」の臨床試験に関わる払戻しが見込めなくなったことによります。

提携からの収益は、従来は大塚製薬との共同研究活動の過程において発生する費用に関する大塚製薬による当社への払戻しが全額を占めていました。2016 年 6 月 13 日、当社は、大塚製薬との間で締結されたエミクススタト塩酸塩契約および OPA-6566 契約を完全に終了すると書面による通知を大塚製薬から受領しました。大塚製薬は、契約終了通知日後 6 か月間にわたり、開発活動の終了に関する一定の費用に対する責任を引き続き有します。

営業損失

今回発表予想数値が前回発表予想数値を 0.9 百万米ドル（88.5 百万円）から 1.4 百万米ドル（140.0 百万円）下回った主な要因は、大塚製薬とのエミクススタト塩酸塩契約の終了に伴い、契約に基づいて払戻しされる外部サービス機関への費用および臨床試験に関わる当社一部従業員の費用が減少したことに起因しています。戦略的事業計画に基づき、これら当社一部従業員は、現在まだ収益を生み出していない新たな自社研究プログラムに従事していることから自社研究開発費が増加しておりますが、契約の終了に伴う費用の見直しを行い研究開発費以外の経費を削減したことから、自社研究開発費の増加による営業損失への影響は、一部相殺されています。

税引前当期純損失

今回発表予想数値が前回発表予想数値の最低値を 0.04 百万米ドル（4.1 百万円）上回り、最高値を 1.2 百万米ドル（119.4 百万円）下回った主な要因は、上記のエミクススタト塩酸塩契約の終了による影響と経費削減に関連するものです。なお、受取利息は、予想していたよりも高い投資収益を見込み、0.2 百万米ドルから 0.9 百万米ドル増加する見込みとなっております。

当期純損失および1株当たり当期純損失

当期純損失における今回発表予想数値が前回発表予想数値の最低値を 0.04 百万米ドル（4.1 百万円）上回り、最高値を 1.2 百万米ドル（119.4 百万円）下回った主な要因は、上記のエミクススタト塩酸塩契約の終了による影響と費用削減に関連するものです。1株当たり当期純損失は、前回発表予想数値の最低値を 0.01 米ドル（1円）上回り、最高値を 0.02 米ドル（2円）下回りました。

以上

(注)

本書には、当社の戦略的事業計画およびその遂行、予定される臨床開発活動およびその時期、ならびに当社の財政状態および業績の予測の記述を含む、米国 1934 年証券取引所法 21 条 E および 1995 年米国証券民事訴訟改革法で規定される意味を有する将来予測の記述が含まれています。かかる将来予測の記述は、一般的に「期待する」、「推測する」「見込む」、「予想する」、「するつもりである」、「目的とする」、「目標とする」、「計画する」、「確信する」などの用語ならびにそれらに類似する用語および表現により特定することができます。将来予測の記述は、現在の予想および見積りに基づくものです。当社は、それらの予想および見積りは合理的なものであると考えていますが、それらの予想および見積りの正確性が証明されるという保証はなく、また実際の結果はそれらと大幅に異なる可能性があります。例は以下のとおりです。(1) その他の経済的、事業上のおよび/または競争上の要因により当社が悪影響を受ける可能性があります。(2) 当社の試験段階の製品候補が、期待される安全性および有効性を示さない可能性があります。(3) 当社の非臨床開発努力が追加的な製品候補を生み出さない可能性があります。(4) 当社または提携パートナーの製品候補が開発に失敗する、規制承認を受けることができない、または商品化に遅れる可能性があります。(5) 競争の激しい眼科医薬品市場における新規の開発により、当社の臨床試験計画が変更を余儀なくされるまたは試験中の製品候補の効果が制限される可能性があります。その他にも、当社が米国証券取引委員会 (SEC) に提出した書類に記載されたその他のリスクも、予測と結果の重大な差異を生む要因となりえます。上述の要因は、完全なものではありません。また、上述の要因ならびに当社のフォーム 10-K による年次報告書、フォーム 10-Q による四半期報告書およびその他当社がその時々 SEC に提出する書類における「リスク要因」の項目に記載されたリスクおよび不確実性について、慎重にご検討ください。本書に含まれる将来予測の記述はすべて、本書日付現在において当社が入手可能な情報に基づいており、当社はそれらの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。

かかる記述における将来の予想は合理的なものであると当社は考えますが、それらに反映される将来における結果、実績または事象および状況が、実際に達成されたり生じたりする確証はなく、実際の結果は、将来予測の記述に含まれるものと大幅に異なる可能性があります。法律で義務付けられている場合を除き、当社は、新情報、将来の展開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または修正する義務を有しません。より完全な情報を得るために、当社が SEC に提出する書類をよくお読みください。

それらの情報は、SEC のウェブサイト (<http://www.sec.gov>) および当社のウェブサイト (<http://ir.acucela.com/>) より入手可能です。