



2026年4月22日

各位

会社名 窪田製薬ホールディングス株式会社
代表者名 代表取締役会長、社長兼最高経営責任者
窪田 良
コード番号 4596 東証グロース
問合せ先 広報・IR
(TEL：03-6550-8928（代表）)

ARVO（視覚と眼科学研究協会会議）2026年次総会における
エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験サブグループ解析結果発表のお知らせ

窪田製薬ホールディングス株式会社（本社：東京都港区、代表者：窪田良、以下「当社」）は、2026年5月3日から5月7日（現地時間）まで米国コロラド州デンバー市にて開催される「ARVO（視覚と眼科学研究協会会議）2026年次総会」において、当社代表取締役会長、社長兼CEOである窪田良医学博士がスターガルト病に伴う黄斑萎縮を対象としたエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」）の第3相臨床試験におけるサブグループ解析結果を発表する予定であることをお知らせいたします。

ARVOは世界75か国以上、約12,000名の会員を擁する、眼科学の研究において世界的に権威のある学術団体です。本年次総会において、窪田博士は「A Phase 3 randomized trial comparing emixustat with placebo for the treatment of macular atrophy secondary to Stargardt disease（和訳：スターガルト病に伴う黄斑萎縮の治療を目的とした、エミクススタトとプラセボを比較する第3相無作為化試験）」と題する演題について、2026年5月7日午前8時から午前9時45分まで、コロラド・コンベンション・センターにてポスター発表を行う予定です。

本第3相試験は、スターガルト病に伴う黄斑萎縮を有する患者を対象とした、多施設共同、無作為化、二重盲検、プラセボ対照試験です。試験全体では、主要評価項目である黄斑萎縮の進行速度について統計学的有意差は認められませんでした。あらかじめ規定されたサブグループ解析において、ベースライン時の病変サイズが比較的小さい患者群では、病変進行が有意に抑制される結果が示されました。

これらの結果を踏まえ、当社米国子会社 Kubota Vision は、エミクススタトがスターガルト病の早期段階にある患者において有望な治療選択肢となる可能性があると考えており、今後も開発機会の検討を

継続してまいります。なお、エミクススタトは概ね良好な忍容性を示しており、安全性プロファイルは、その作用機序およびこれまでの臨床試験結果と概ね一致するものでした。

本件について、窪田博士は次のようにコメントしています。

「ARVO 2026 という、眼科領域における世界有数の学術集会において、第3相試験データを発表できることを大変意義深く感じています。試験全体では主要評価項目を達成するには至りませんでした。サブグループ解析結果は、スターガルト病の早期段階におけるエミクススタトの可能性について重要な示唆を与えるものです。当社は、これらの結果がエミクススタトの継続的な評価を支持するものと考えており、いまだ有効な治療選択肢が限られている患者さんのために、今後も開発の可能性を追求してまいります。」

スターガルト病について

スターガルト病は、目の網膜に障害をきたす稀少遺伝性疾患で若年者に発症し、緩やかに視力が低下していきます。スターガルト黄斑ジストロフィー又は若年性黄斑変性とも言われます。スターガルト病の主な要因とされる ABCA4 遺伝子異常により、徐々に光受容体が損傷し視力が低下します。スターガルト病患者には、視野の欠損、色覚異常、歪み、ぼやけ、中心部が見えにくいといった様々な症状が見られます。典型的なスターガルト病は、小児期から青年期にかけて発症しますが、中には成人期まで視力低下を自覚しない患者もいます。

眼球の奥にある網膜には、脳に映像を認識させるために光を電気信号に変える働きをする「視覚サイクル」と呼ばれる仕組みがあります。この視覚サイクルでは、まず光が網膜の光受容細胞（視細胞）にあるレチナール（ビタミン A の一種）とオプシンと呼ばれるタンパクが結合した光受容タンパク（視物質）により吸収され、その視物質の構造変化が起きます。この構造変化が視細胞内のシグナル伝達系を活性化して膜電位を変化させ、生じたシグナルが脳へと伝わる、という仕組みです。

この視覚サイクル中、光受容時に生じる構造が変化した視物質からビタミン A 構造由来の有害代謝産物が生成されます。この有害物質が、後述の理由で網膜色素上皮（RPE）細胞内に蓄積されると、RPE 細胞の機能喪失及びアポトーシス（細胞死）が起こり、ひいては視細胞の喪失による視力低下あるいは失明にいたります。この有害物質の RPE 細胞内の蓄積がスターガルト病の直接的病因です。

正常の網膜には、こうした有害代謝産物の前駆物質を視細胞内から外に運搬する膜輸送タンパクがあるため、RPE 細胞は守られています。スターガルト病は遺伝性の網膜疾患で、この視覚サイクルにおける視物質の膜輸送タンパク ABCR をコードする ABCA4 遺伝子の変異があり、その変異が本疾患の根本原因と考えられています。現時点では治療法はありません。

エミクススタト塩酸塩について

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。

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。