



2017年10月6日

お知らせ  
各位

窪田製薬ホールディングス株式会社  
(コード番号 4596 東証マザーズ)  
問合せ先：IR部 03-6550-8928

子会社アキュセラの研究開発担当上級副社長のルーカス・シャイブラー博士が  
オプトジェネティクス技術をテーマに「The Cell & Gene Meeting on the Mesa」で登壇

世界中で眼疾患に悩む皆さまの視力維持と回復に貢献することを目的に、イノベーションをさまざまな医薬品・医療機器の開発および実用化に繋げる眼科医療ソリューション・カンパニーである窪田製薬ホールディングス株式会社(本社：東京都千代田区、CEO：窪田良、以下「当社」)は、100%子会社のアキュセラ・インク(米国、以下「アキュセラ」)の研究開発担当上級副社長のルーカス・シャイブラー博士が10月4日(現地時間)に米国カリフォルニア州ラホイヤ市で開催された「The Cell & Gene Meeting on the Mesa」で登壇し、網膜色素変性の治療法候補であるヒトロドプシンを用いたオプトジェネティクス技術の開発について発表しましたことをごお知らせします。

網膜色素変性は、遺伝性の網膜変性疾患です。幼少期に発症し、40歳頃までに失明する例も多く見られます。約4,000人に1人が罹患する稀少疾病であり\*<sup>1</sup>、世界で150万人が患っていると推定されています\*<sup>2</sup>。

網膜色素変性は、光を捕らえ視覚認知につなげる働きを持つ光受容細胞の変性を引き起こす常染色体優性や、常染色体劣性、X連鎖突然変異などの遺伝子変異が原因で発症し、ゆるやかに進行します。病原となる遺伝子変異は100種類以上が同定されています\*<sup>3</sup>。日本においては、厚生労働省が難病に指定しています。現在のところ網膜色素変性に対する有効な治療法はありません。

シャイブラー博士は、合成プロモーターとアデノ随伴ウイルスベクターの最適化において、アキュセラが築いてきた世界的に著名な専門家との協働体制と進捗状況について発表しました。アキュセラは細胞特異的かつ特許取得が可能なベクターを開発し、網膜色素変性患者に対し、侵襲性を最小限に抑え、選択的送達を可能にする革新的な治療法の確立を目指します。

「失明した患者の基本的な視機能回復という共通の目標をもった専門家たちとの協業体制を構築できたことを大変嬉しく思います」とシャイブラー博士は述べています。

また、当社の代表執行役会長、社長兼最高経営責任者の窪田良博士は、次のように述べています。「オプトジェネティクス技術に基づく遺伝子療法が開発が進み、網膜色素変性の患者さんへ新たな治療法をお届けできる日が少し近づいたものと考えております」

「The Cell & Gene Meeting on the Mesa」は、細胞治療、遺伝子療法分野のキーパーソンや経営者層、著名な研究者が世界中から集まるカンファレンスです。

オプトジェネティクス技術および当社の開発品に関するさらなる情報については、<http://www.kubotaholdings.co.jp/pipeline>をご覧ください。



- \* 1 : Genetics Home Reference, retinitis pigmentosa (網膜色素変性).  
<https://ghr.nlm.nih.gov/condition/retinitis-pigmentosa>. 閲覧日 2016年11月7日
- \* 2 : Vaidya P, Vaidya A. Retinitis Pigmentosa: Disease Encumbrance in the Eurozone. Int J Ophthalmol Clin Res. 2:030 (2015)
- \* 3 : National Human Genome Research Institute. Learning About Retinitis Pigmentosa. (網膜色素変性について) <https://www.genome.gov/13514348/>. 閲覧日 2016年11月7日

以上

### 窪田製薬ホールディングス株式会社について

当社は、世界中で眼疾患に悩む皆さまの視力維持と回復に貢献することを目的に、イノベーションをさまざまな医薬品・医療機器の開発および実用化に繋げる眼科医療ソリューション・カンパニーです。当社100%子会社のアキュセラ・インク(米国、シアトル)が研究開発の拠点となり、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「エミクススタト塩酸塩」において糖尿病網膜症、スターガルト病、中期加齢黄斑変性への適応を目指し研究を進めております。また、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」の研究開発および網膜色素変性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実施しております。同時に、加齢黄斑変性、増殖糖尿病網膜症、糖尿病黄斑浮腫の治療を目指し、「バイオミメティクス(生物模倣技術)」の研究開発も進めております。また、PBOSなどのモバイルヘルスを含む医療デバイスの研究開発も手掛けております。

(ホームページアドレス：<http://www.kubotaholdings.co.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。