



2026年4月7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 担当
(TEL : 03-6550-8928 (代表))

連結子会社による、フランスのコンパッショネート・ユース・プログラム向けスターガルト病
治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の GMP 準拠原薬製造開始に関するお知らせ

窪田製薬ホールディングス株式会社（本社：東京都港区、以下「当社」）の連結子会社である Kubota Vision Inc.（所在地：アメリカ合衆国・ワシントン州シアトル、Director of the Board, Chairman, President, and CEO;窪田良、以下「Kubota Vision」）は、本日、スターガルト病治療候補薬であるエミクススタト塩酸塩（以下「エミクススタト」）の原薬製造プロセスについて、新たな製造拠点への技術移管が完了したことをお知らせいたします。

これに伴い、Kubota Vision は、2026年4月より、臨床用 GMP（Good Manufacturing Practice）に準拠した原薬の製造を開始する予定です。

本件は、2026年3月2日付で公表いたしました Kubota Vision と Laboratoires KÔL（以下「KÔL」）との供給およびライセンス契約に基づく取り組みの一環であり、フランスにおけるコンパッショネート・ユース・プログラムへの供給体制の確立に向けた重要な進展となります。（ご参照：[「連結子会社におけるスターガルト病治療候補薬『エミクススタト塩酸塩』に関する Laboratoires KÔL との供給およびライセンス契約締結に関するお知らせ」](#)）。

当該契約にもとづき、Kubota Vision は原材料の調達、原薬（有効成分）の製造、最終製品（経口錠剤）の製造および規制対応を担い、KÔL はフランス国内における製造以外の業務（保管・流通、フランス医薬品・保健製品安全庁（ANSM）との対応、ならびに一部のメディカルアフェアーズ活動等）を担います。

今回の原薬製造プロセスの技術移管完了および臨床用 GMP 準拠原薬の製造開始は、フランスにおけるコンパッショネート・ユース・プログラムの推進に向けた重要なマイルストーンであり、エミクススタトの実用化への進捗を示すものです。

Kubota Vision は今後も関係各所と連携し、品質および供給体制の確保に努めるとともに、エミクススタトの開発および事業活動を推進してまいります。



なお、本件による当社業績への影響は軽微であると見込んでおりますが、今後開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

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。



原薬 (API: Active Pharmaceutical Ingredient)

医薬品の主成分として有効な薬理作用を示す化学物質または生物由来成分を指し、最終製剤（スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の場合は経口錠剤）に配合される前の段階の物質です。