



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

決算説明会

2021年12月期（第14期）第2四半期

2021年8月20日 東証ジャスダック グロース：4579

ご注意：本資料は投資勧誘を目的に作成されたものではありません。投資を行われる際には投資家ご自身で判断していただくようお願いいたします。また、本資料内の免責事項を必ずご参照ください。



- ◆ 本発表において提供される資料ならびに情報は、いわゆる「見通し情報」(forward-looking statements)を含みます。これらは、現在における見込み、予測およびリスクを伴う想定に基づくものであり、実質的にこれらの記述とは異なる結果を招き得る不確実性を含んでおります。
- ◆ それらリスクや不確実性には、一般的な業界ならびに市場の状況、金利、通貨為替変動といった一般的な国内および国際的な経済状況が含まれます。リスクや不確実性は、特に製品(研究開発プログラムおよび化合物)に関連した見通し情報に存在します。製品のリスク、不確実性には、技術的進歩、特許の競合他社による獲得、臨床試験の完了、製品の安全性ならびに効果に関するクレームや懸念、規制当局からの承認取得、国内外の医療保険制度改革、医療費抑制への傾向、国内外の事業に影響を与える政府の法規制、新製品開発に付随する課題等が含まれますが、これらに限定されるものではありません。



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

決算説明会

2021年12月期（第14期）第2四半期



1. 今期のビジネスハイライト
2. 第2四半期業績
3. R&Dハイライト
4. 今年度の見通し
5. 資金調達状況
6. その他のトピックス



上市品

胃食道逆流症治療薬tegoprazan（テゴプラザン）および動物薬の販売堅調

- 販売ロイヤルティ収入 4億8800万円を計上
- テゴプラザン（韓国販売名：K-CAB®）の販売好調（前年同期比28.7%増）
- 動物薬（GALLIPRANT®・ENTYCE®・ELURA™）の販売も好調に推移

テゴプラザンの米国での第I相臨床試験（フェーズ1試験）開始

- HKイノエン社が韓国で上市済みのテゴプラザン製剤を用いたフェーズ1試験を開始

✓ タミバロテンの米国での第III相臨床試験（フェーズ3試験）開始

- シロス社が高リスクMDSを適応とするタミバロテンとアザシチジンとの併用試験を開始
・マイルストーン達成に伴う一時金200万米ドルを受領

✓ あすか製薬との共同研究の順調な進展

- 共同研究の進展に伴うマイルストーンを達成

グレリン受容体の前臨床試験準備が進行中

- 前臨床試験用の原薬製造が順調に進展

研究開発 (導出先・自社)

その他

テゴプラザンの中国における注射剤開発に関するサブライセンス契約

- HKイノエン社が注射剤の開発および販売に関する契約をLuoxin社と締結

HKイノエン社が韓国KOSDAQ市場に上場

- 2021年8月9日 韓国KOSDAQ市場における新規株式公開

HKイノエン社：HK inno.N Corporation（本社：韓国ソウル市、代表取締役：Seok-Hee Kang）
シロス社：Syros Pharmaceuticals Inc.（本社：米国マサチューセッツ州ケンブリッジ、最高経営責任者：Nancy Simonian）
あすか製薬：あすか製薬株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：山口 惣大）

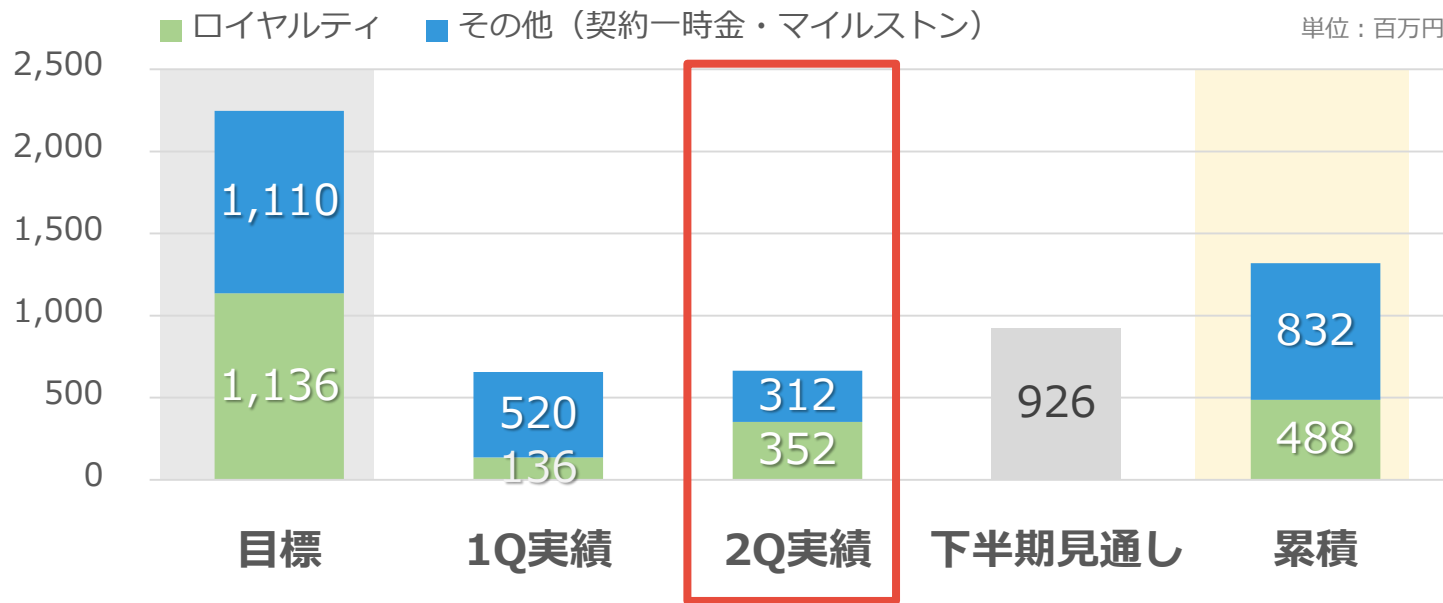


前年度同期

	2021年12月期 第2四半期	2020年12月期 第2四半期
事業収益	1,320 百万円	372 百万円
営業利益	314 百万円	△403 百万円
経常利益	432 百万円	△402 百万円
四半期純利益	302 百万円	△459 百万円



- **テゴプラザン（韓国販売名：K-CAB®）の販売好調**：前半期比52.5%減/前年同期比28.7%増
- **動物薬の売上も順調**（GALLIPRANT®：前四半期比4.9%増； ENTYCE®：前四半期比95.8%増）
- **研究開発の進捗に基づく複数件のマイルストーン収入を獲得**



達成率
58%

実績

見通し

- 1Q** 旭化成ファーマ及びマルホからマイルストーンを受領し5億2000万円を計上
動物薬の販売ロイヤルティ等で1億3600万円を計上
- 2Q** テゴプラザン（K-CAB®）および動物薬の販売ロイヤルティで3億5200万円を計上
シロス社およびあすか製薬から受領したマイルストーンを含み、その他収入で3億1200万円を計上
- 下半期** K-CAB®および動物薬の販売ロイヤルティに加え、契約一時金をあわせて9億2600万円見込む

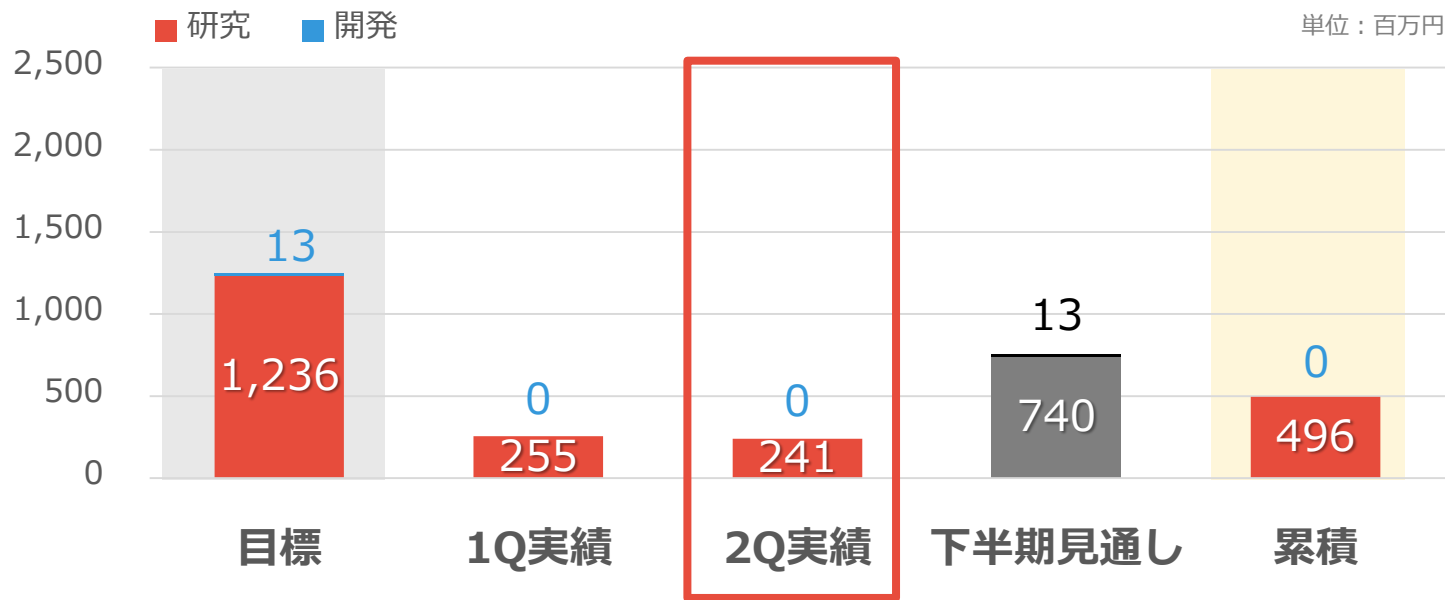
※今後の見通しについては、進行中の導出交渉への影響等を鑑み、収入の区分や四半期の別を設けずまとめて表示しています。



R&Dハイライト・研究開発費の状況

RaQualia
innovators for life

- **2021年度第2四半期の累積研究開発費**：4億9600万円（今年度予算の約40%）
- **あすか製薬株式会社との共同研究**：共同研究が順調に進展し所定のマイルストーンを達成
- **グレリン受容体作動薬**：前臨床試験用の原薬製造が順調に進行中



実績

見通し

- 1Q** 探索研究を軸に2億5500万円を計上
タミバロテンの肺癌に対する医師主導治験がAMED採択される
- 2Q** 探索研究を軸に2億4100万円を計上
あすか製薬株式会社との共同研究が進展しマイルストーンを達成
- 下半期** 探索研究活動に前臨床の費用支払を加えた7億5300万円を使用する見込み



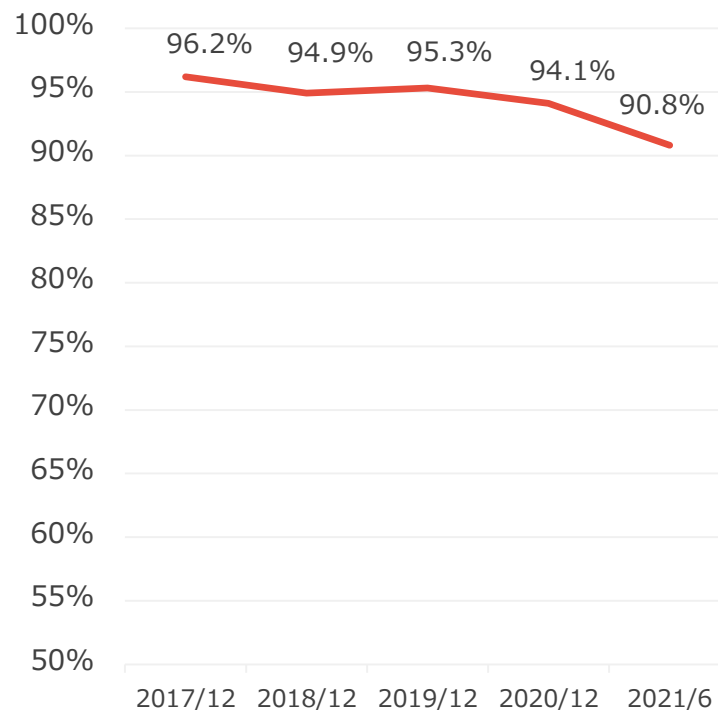
未払金及び未払法人税等の増加により総資産が増加したため、自己資本比率は一時的に低下

連結貸借対照表 (対前期比較)

単位: 百万円

流動資産	負債 425 (+185)
3,281 (+446)	純資産 4,343 (+332)
固定資産	
1,487 (+70)	

自己資本比率



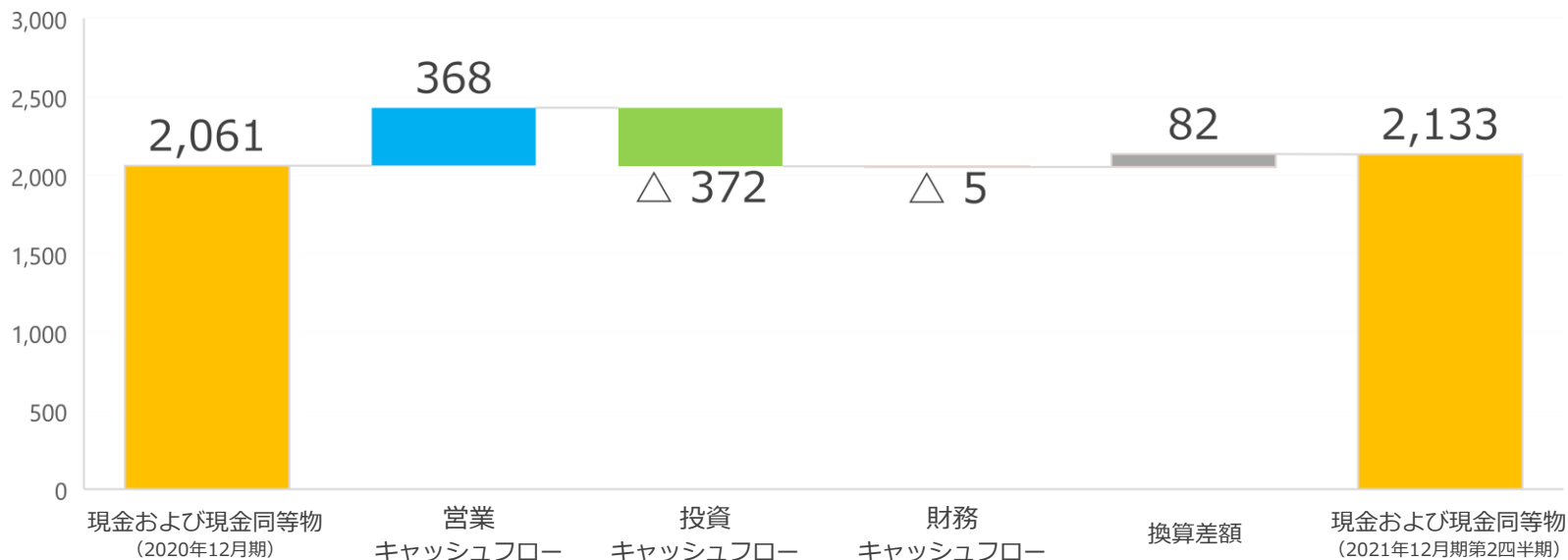


2021年12月期 第2四半期キャッシュフロー

決算説明会

2021年12月期 第2四半期

単位：百万円



営業

キャッシュフロー

主な増加要因：税金等調整前四半期純利益436百万円、売上債権の減少89百万円
 主な減少要因：前払費用の増加142百万円、法人税等の支払額49百万円

投資

キャッシュフロー

主な増加要因：投資有価証券の売却による収入110百万円
 主な減少要因：定期預金の預入支出207百万円、有価証券の取得による支出100百万円
 投資有価証券の取得による支出100百万円

財務

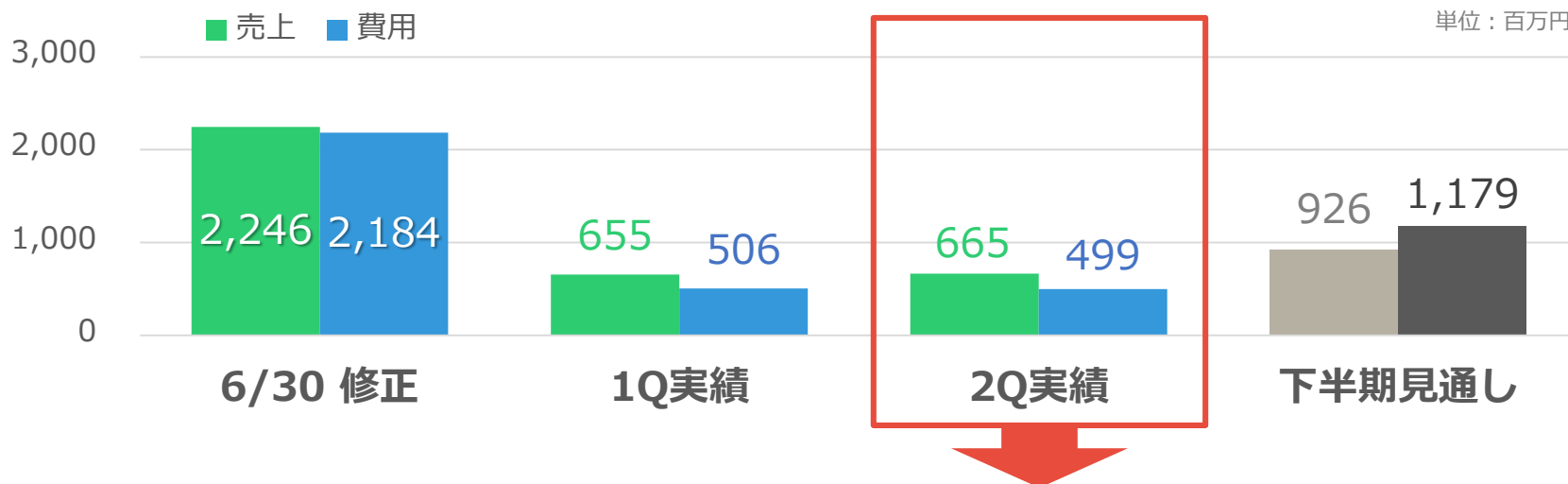
キャッシュフロー

主な減少要因：リース債務の返済による支出5百万円



● 今期業績見通しは据え置き

事業収益2,246百万円、事業費用2,184百万円、営業利益 61百万円



売上

1Qは、旭化成ファーマとマルホからのマイルストーンを軸に655百万円を計上
 2Qは、シロス社からのマイルストーン2百万ドルのほか、販売ロイヤルティを軸に665百万円を計上
 下半期は、販売ロイヤルティに契約一時金・マイルストーンを加えた926百万円を見込む

以上の結果、通期で2,246百万円を見込む

費用

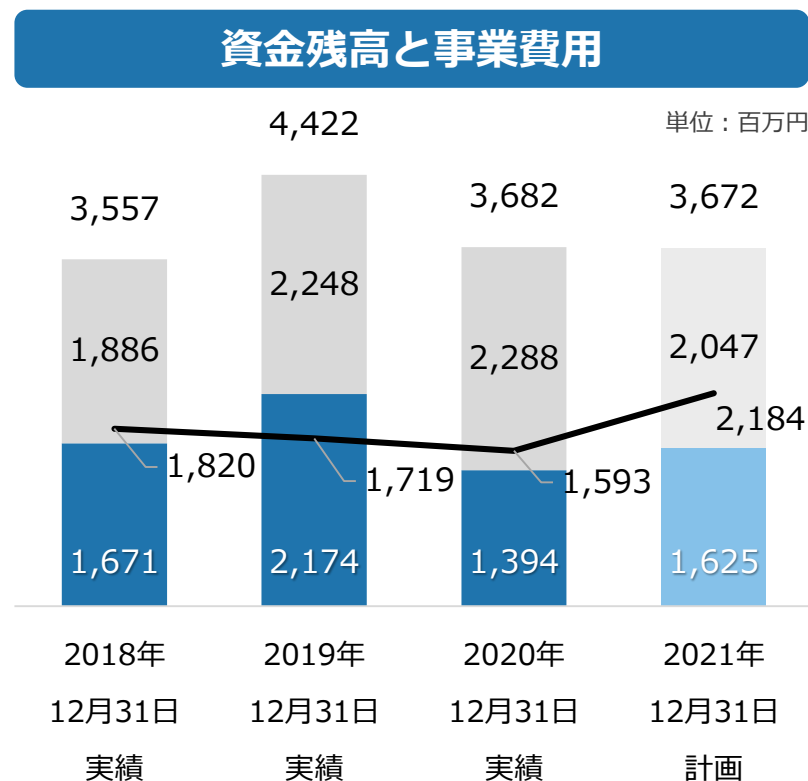
1Qは、事業原価41百万円、研究開発費用256百万円、その他販売費一般管理費209百万円を計上
 (増加要因：株主総会費用60百万円)
 2Qは、事業原価133百万円、研究開発費用240百万円、その他販売費一般管理費126百万円を見込む
 下半期は、事業原価115百万円、研究開発費用753百万円、その他販売費一般管理費311百万円を見込む

以上の結果、通期で2,184百万円を見込む



- 現状の事業費用に対する資金残高は十分に確保
- 今後の課題は、非連続な成長を達成するための戦略的選択肢を拡大するための資金調達
- 以下記載の事項を前提に検討中

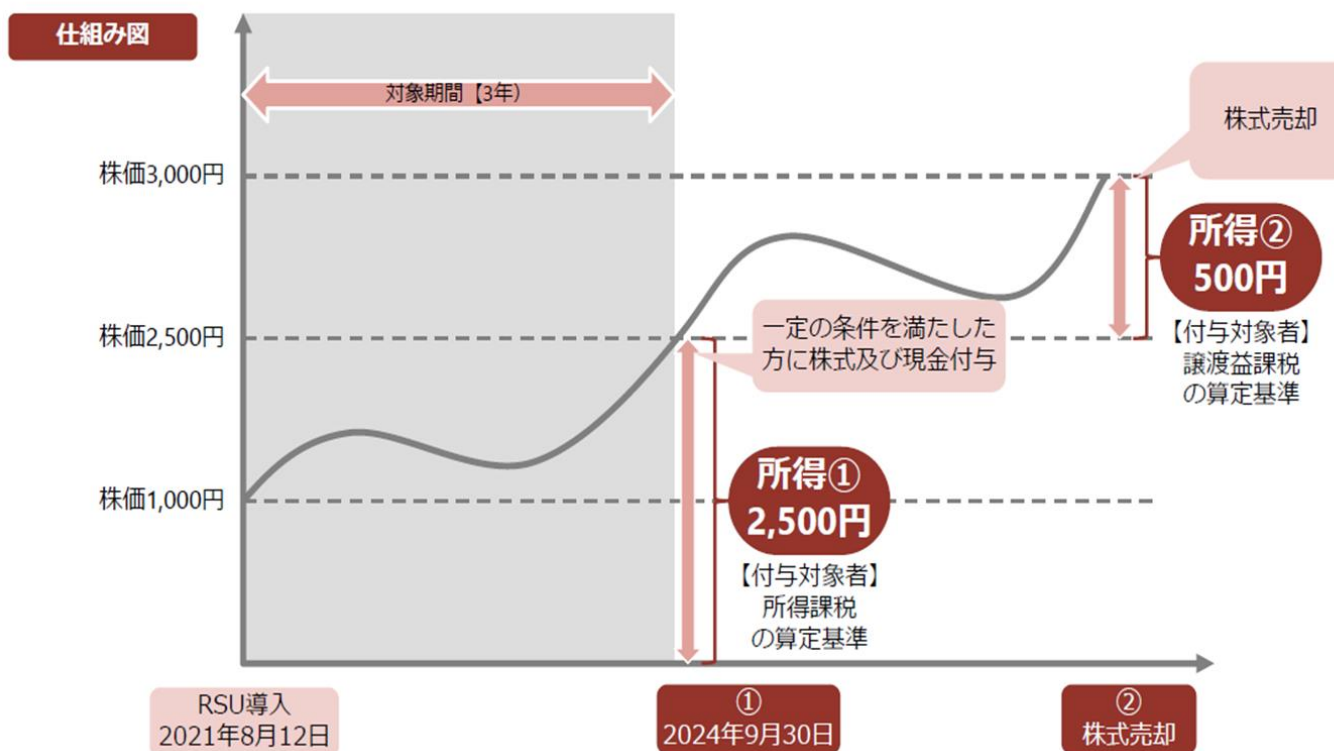
時期 … 黒字化による時価総額の向上後
 用途 … 臨床開発、設備投資、
 パイプライン導入等
 備考 … パートナー候補企業との協議
 次第で上記の時期に拘らず調達
 を行う可能性があります



※資金残高は投資有価証券と売掛金を含んだものです。



- 当社グループの従業員に対する福利厚生およびインセンティブを目的として、事後交付型株式報酬制度（RSU）を導入
- 算定期間3年満了後に、新株を発行し対象者に交付
- 上限金額は1億円、希薄化率は0.5%程度と想定





2021年8月9日、当社の導出先であるHKイノエン社は、韓国KOSDAQ（コスダック、Korean Securities Dealers Automated Quotations）での新規株式公開を果たしました。



画像出典：HKイノエン社ウェブサイト (http://www.inno-n.com/company/publicity_center/report_data/view.asp?crd_seq=757)
コスダック市場上場を記念して韓国証券取引所で撮影された同社の主要役職員の写真

当社はHKイノエン社の新規上場に心より祝意を表します！



(HKイノエン社発表資料 IR Book (2021年7月) より引用・和訳)

K-CAB®は、既存薬であるプロトンポンプ阻害薬 (PPI) やH₂ブロッカー (H2RA)、および競合のP-CAB薬剤に比べて、優れた有効性および優れた安全性を示す

P-CABはPPIとH2RAの双方の欠点を克服する治療薬

市場ポジショニング



K-CAB®の概要

適応疾患	胃食道逆流症 (びらん性・非びらん性)、消化性潰瘍、ヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法
市場規模	韓国市場：約6,002億ウォン (約579億円 (※)) グローバル市場：21兆ウォン (約2兆円 (※))
特許期間	韓国国内市場：~2036年3月 グローバル市場：~2035年11月

データ出典：HKイノエン社社内資料およびBCC Research

P-CAB：カリウムイオン競合型アシッドブロッカー；ALT：アラントランスアミナーゼ；AST：アスパラギントランスアミナーゼ

※ 1 韓国ウォン=0.0964円で換算

K-CAB®は競合するP-CAB薬剤に比べて優れた特性を示す

	K-CAB®	Vonoprazan (タケキャブ®)	Fexuprazan
会社	HKイノエン社	武田薬品工業	Daewoong Pharmaceuticals
薬効発現までの時間	~ 20-30 分	~ 2.5-4 時間	~ 2.5-4 時間
夜間の酸逆流を抑制	✓	X	
びらん性	✓	✓	
非びらん性	✓	X	
ガストリン値	+	+++	
ALT/AST値	-	+++	
薬物相互作用の可能性	+	+++	

現在開発中

この資料の正式言語は韓国語であり、内容および解釈については韓国語が優先します。



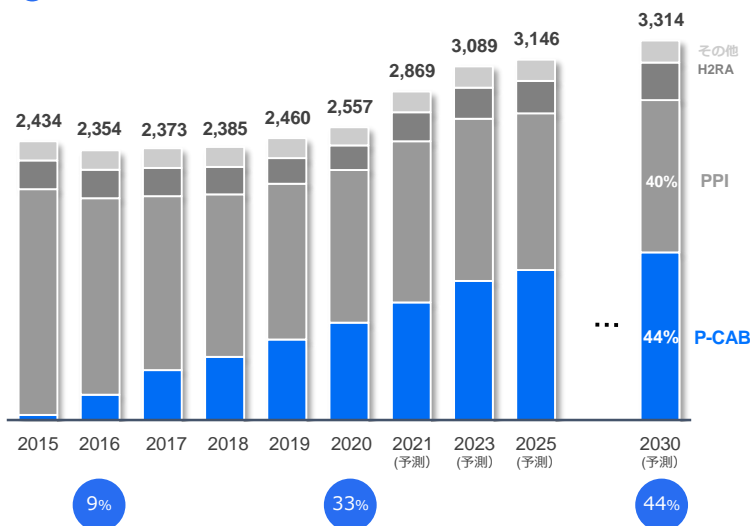
(HKイノエン社発表資料 IR Book (2021年7月) より引用・和訳)

P-CABは、従来の薬との併用/置き換えなどの新たな需要に基づいて迅速に市場を拡大する見込み

日本のP-CABの市場は、既存薬との併用/置き換え需要と新市場の形成を介して急速に成長しているとみられる

日本の消化性潰瘍剤の市場規模 (億円※)

● P-CAB市場シェア



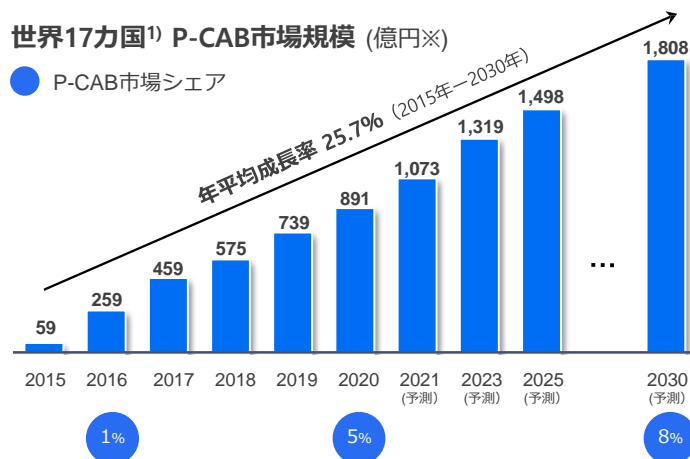
グローバルP-CAB市場も同様の推移を示すと見込まれる

世界の消化性潰瘍剤の市場規模 (兆円※)



世界17カ国¹⁾ P-CAB市場規模 (億円※)

● P-CAB市場シェア



データ出典：BCC Research

注釈：1) 日本、韓国、中国、東南アジア4カ国、米国、ブラジル、イタリア、フランス、ドイツ、カナダ、スペイン、英国、ロシア、およびアルゼンチン

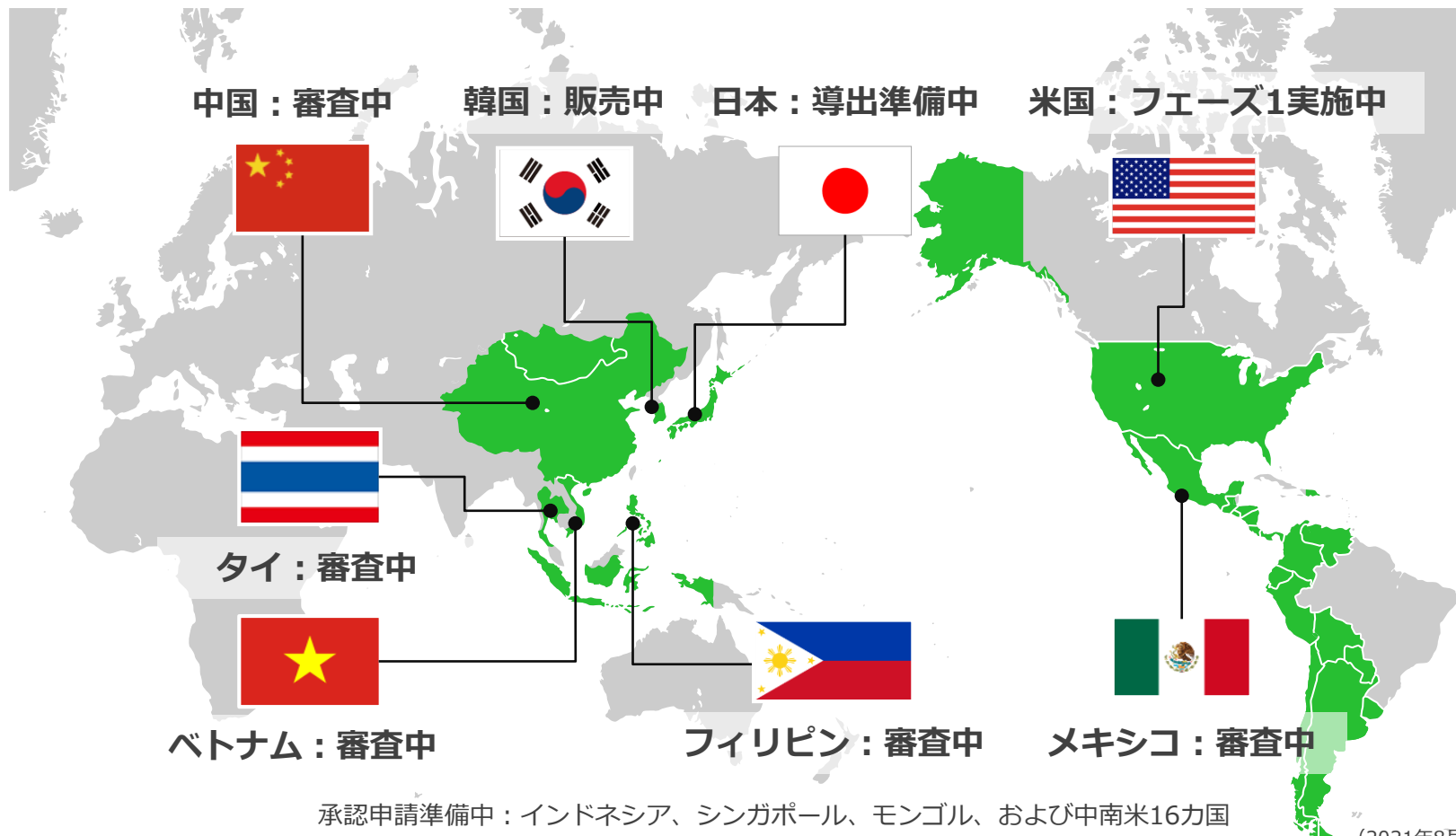
※原資料では韓国ウォンで表示。1韓国ウォン=0.0964円で換算

この資料の正式言語は韓国語であり、内容および解釈については韓国語が優先します。



HKイノエン社（韓国）との強固なパートナーシップにより世界展開を拡大中

- 既に上市済みの韓国を除き、合計25ヶ国において開発・審査が進行中
- HKイノエン社発表：「2028年にはグローバル100カ国への進出を目標としている」





- 既存薬に比べて安全性に優れた薬剤
- レチノイン酸受容体のαサブタイプ (RARα) に選択的に結合し、強い分化誘導活性を示す
- 他の抗腫瘍剤との併用により高い相乗効果が期待できる
- 2005年4月に東光薬品工業 (株) が「再発または難治性の急性前骨髄球性白血病 (APL)」の治療薬として承認を取得し、日本新薬 (株)より「アムノレイク錠2mg」として販売されている

導出先のシロス社の開発方針

- 骨髄異形成症候群 (MDS) および急性骨髄性白血病 (AML) 患者の約25%がRARα 遺伝子 (RARA) を高発現していることを見出し、RARAの発現量をバイオマーカーとしたPrecision Medicineとしての新薬承認を目指す
- 未治療高リスクMDSに対して、アザシチジンとの併用によるフェーズ3試験を実施中
- 未治療 unfit AMLに対しては、タミバロテンと標準療法ベネトクラクス/アザシチジンとの三剤併用によるフェーズ2試験を準備中

開発コード	適応症	開発地域	開発段階	導出先
TM-411	骨髄異形成症候群 (MDS)	米国	P 3 実施中	Syros Pharmaceuticals, Inc.
	急性骨髄性白血病 (AML)	米国	P 2 準備中	Syros Pharmaceuticals, Inc.
	神経芽腫 (NB)	日本	P 1 / 2 実施中	大原薬品工業 (株)
	すい臓がん (PC)	日本	P 1 / 2 実施中	医師主導治験 (名古屋大学)



RaQualia
innovators for life

- News Release -



あすか製薬株式会社

2021年7月13日
ラクオリア創薬株式会社
あすか製薬株式会社

ラクオリア創薬とあすか製薬の共同研究の進展に伴う マイルストーン達成のお知らせ

ラクオリア創薬株式会社（以下「ラクオリア創薬」）とあすか製薬株式会社（以下「あすか製薬」）との間で実施しております、特定のイオンチャネルを標的とした創薬に関する共同研究（以下「本共同研究」）につきまして、この度、マイルストーンを達成しましたのでお知らせいたします。

本共同研究は、2019年7月に新薬の創出を目指してスタートし、今般、共同研究契約に定められた本共同研究の一定の成果が認められました。成果の創出に伴い、あすか製薬はラクオリア創薬にマイルストーン達成に伴う一時金を支払います。なお具体的な達成条件や金額等につきましては、契約上、非開示とさせていただきます。

ラクオリア創薬代表取締役社長である武内博文は、「当社とあすか製薬との共同研究におけるマイルストンの達成を大変嬉しく思います。当社は今後もあすか製薬と協力し、当社の強みであるイオンチャネル技術を用いて共同研究に貢献することで、創薬に繋がるさらなる成果を期待しております。」と述べ、あすか製薬代表取締役社長 山口惣大は、「本共同研究の成功は、今後の医薬品開発を進めるうえで、大きなプラス要素となります。これからの進展に大変期待しております。」とコメントしております。

両社は今後も、創薬に関する独自の技術ノウハウを組み合わせ、成果の創出に尽力してまいります。



研究開発段階	前臨床段階（原薬製造進行中・第4四半期に前臨床試験を開始予定）
想定適応症	がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘
対象地域	全世界
患者数	悪液質：約200万人（全世界）（がん患者の20-30%の死因が悪液質） 脊髄損傷に伴う便秘：約30万人（全世界）
既存薬	がん悪液質：アナモレリン 脊髄損傷に伴う便秘：酸化マグネシウム、ルビプロストン等
市場規模	悪液質：300億円以上（全世界、ピークセールス予想） 脊髄損傷に伴う便秘：200億円（全世界、ピークセールス予想）
製品機能の目標	悪液質：食欲・摂食状況の改善とともに体重増加・身体機能の改善を可能にする薬剤 脊髄損傷に伴う便秘：排便中枢に直接作用し、短時間で自律的な排便を可能にする薬剤
競合	悪液質：ACM-001 ((S)-pindolol) 等 脊髄損傷に伴う便秘：主適応として開発中の薬剤なし
差別化ポイント	強い薬効と広い安全域
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許は主要国で登録済み、再審査期間および周辺特許出願を含む）

LOE (Loss of Exclusivity) : 独占期間の満了



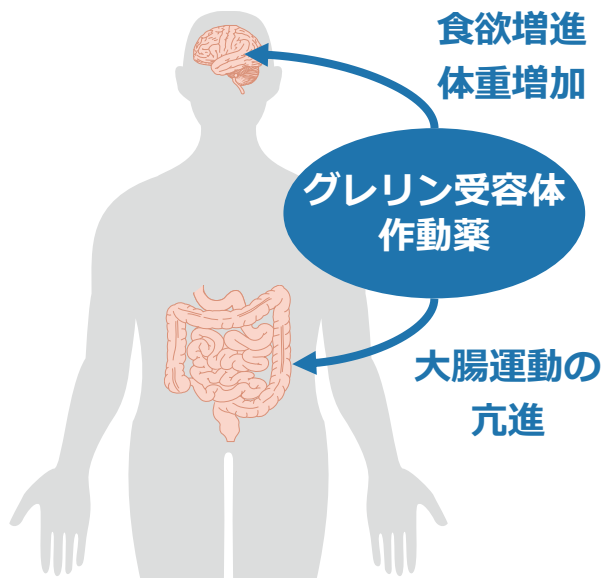
がん悪液質、および脊髄損傷に伴う便秘の双方に対する有効性が期待される化合物

● がん悪液質

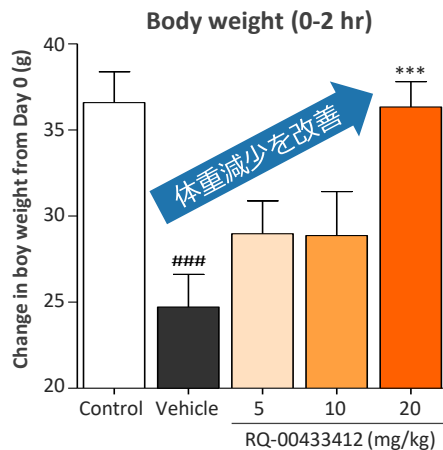
進行がん患者の初診時に約50%、終末期の80%に認められる。グレリン受容体作動薬は視床下部に働きかけ、食欲を増進、脳下垂体からの成長ホルモンの放出を促し、筋肉量増加および体重増加の作用を持つ

● 脊髄損傷に伴う便秘

脊髄損傷者の多くは自律神経の障害により排便障害を患う。既存の緩下剤には下痢の恐れがあるため、より使いやすい排便促進薬が求められている。グレリン受容体作動薬は、仙髄排便中枢に直接作用して大腸運動を促進し、自律的な排便を促す

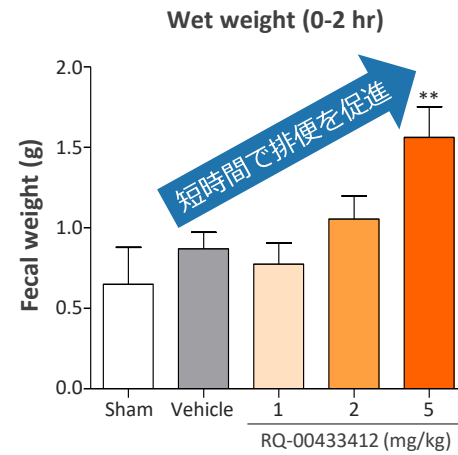


担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



P<0.001 vs. Control, *** P<0.001 vs. Vehicle

脊髄損傷ラットにおけるRQ-00433412の効果



SCI

** P<0.005 vs. Vehicle



導出済みプログラム（ヒト）

- **P-CAB**：韓国での販売は順調、中国では承認審査中で2022年第1四半期に上市見込み、米国ではHKイノエン社（韓国）がテゴプラザン製剤を用いて改めて実施中
- **EP4拮抗薬**：AskAt社の導出先であるIkena Oncology社が上場。開発の加速に期待
- **ジプラシドン**：Meiji Seikaファルマにおいて、今後の開発計画および開発戦略について検討中

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	臨床開発					承認申請	承認	販売
				探索	前臨床	P1	P2	P3			
カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB） K-CAB®	HKイノエン社（韓国）	胃食道逆流症	韓国	販売中（2019年3月上市）							
			中国								審査中
			米国			実施中					
			メキシコ、ベトナム、タイ、フィリピン								審査中
EP4拮抗薬	(株)AskAt	疼痛	米国				前期終了				
			中国			終了					
		がん	米国			実施中					
			中国			実施中					
			変形性関節症 自己免疫疾患 他	—		終了					
ジプラシドン	Meiji Seikaファルマ(株)	統合失調症	日本					実施中			



導出済みプログラム（ヒト）

- **各AskAt品目**：COX-2阻害薬が中国にてP1試験実施中、CB2作動薬の導出先が上場し開発の加速に期待
- **選択的ナトリウムチャンネル遮断薬**：あらかじめ決めていた成果を達成し、引き続きマルホにて開発中
- **P2X7受容体拮抗薬**：旭化成ファーマとリリー社との間のライセンス契約により、グローバル開発へ
- **特定のイオンチャンネル**：EAファーマにて引き続き開発中

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	臨床開発							
				探索	前臨床	P1	P2	P3	承認申請	承認	販売
5-HT ₄ 部分作動薬	(株)AskAt	アルツハイマー病	米国			終了					
COX-2阻害薬	(株)AskAt	疼痛	米国				前期終了				
			中国			実施中					
CB2作動薬	(株)AskAt	鎮痛等	—		実施中						
選択的ナトリウムチャンネル遮断薬	マルホ(株)	鎮痛・鎮痒	—	非開示							
P2X7受容体拮抗薬	旭化成ファーマ(株)／Eli Lilly and Company	神経障害性疼痛	—			終了					
特定のイオンチャンネル	EAファーマ(株)	消化器領域	—	非開示							



導出済みプログラム（ペット）

- **GALLIPRANT®**：米国、欧州各国に加えて、日本でも上市。販売は概ね順調に推移
- **ENTYCE®**：米国において引き続き販売中。販売は概ね順調に推移
- **ELURA™**：猫向けのELURAが米国で上市。今後売上を伸ばして行く見込み

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	パイロット試験	ピボタル試験	承認申請	承認	販売
EP4拮抗薬 GALLIPRANT®	エランコ社 (米国)	変形性関節症 (犬)	米国	販売中（2017年1月上市）				
			欧州	販売中（2019年3月上市）				
			日本	販売中（2020年10月上市）				
グレリン受容体作動薬 ENTYCE®	エランコ社 (米国)	食欲不振 (犬)	米国	販売中（2017年10月上市）				
グレリン受容体作動薬 ELURA™	エランコ社 (米国)	慢性腎疾患の 体重減少管理 (猫)	米国	販売中（2021年3月上市）				



導出準備プログラム

- **全てのプログラム**：導出先候補への紹介を実施。複数件の導出交渉が進行中
- **グレリン受容体作動薬**：前臨床試験用の原薬製造が進行中。第4四半期に前臨床試験を開始予定
- **5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬、モチリン受容体作動薬**：臨床開発の実施について検討中
- **TRPM8遮断薬**：前臨床試験の実施について検討中

プロジェクト名	一般名 化合物コード	主適応症	対象 地域	臨床開発								
				探索	前臨床	P1	P2	P3	承認 申請	承認	販売	
カリウムイオン競合型アシッドブロッカー (P-CAB)	tegoprazan RQ-00000004	胃食道逆流症	日本			終了						
5-HT ₄ 部分作動薬	RQ-00000010	胃不全麻痺 機能性胃腸症 慢性便秘	全世界			終了	検討中					
5-HT _{2B} 拮抗薬	RQ-00310941	下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)	全世界			終了	検討中					
モチリン受容体作動薬	RQ-00201894	胃不全麻痺 機能性胃腸症 術後イレウス	全世界			検討中						
グレリン受容体作動薬	RQ-00433412	がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘	全世界		進行中							
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	神経障害性疼痛	全世界		検討中							

私たちは創薬を通じて健康と幸せに貢献し、
人々の心に陽をもたらします



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社