

2021年6月30日

各 位

会 社 名 ラクオリア創薬株式会社
 代 表 者 名 代表取締役 武内 博文
 (コード番号：4579)
 問 合 せ 先 事業戦略部長 須藤 正樹
 (TEL. 052-446-6100)

中期経営計画の修正に関するお知らせ

当社は、2021年2月16日に公表した2021年12月期～2023年12月期中期経営計画に関し、下記のとおり修正いたしましたのでお知らせいたします。

記

1. 売上・損益目標修正の概要

【見直後】

(百万円)

	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益(△)
2021年度通期(計画)	2,246	2,184	61	184	118
2022年度通期(目標)	2,928	2,372	556	563	464
2023年度通期(目標)	3,009	2,327	681	686	561

【見直前】(2021年2月16日公表)

(百万円)

	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益
2021年度通期(計画)	2,738	2,317	420	427	343
2022年度通期(目標)	2,959	2,255	704	719	610
2023年度通期(目標)	2,683	2,242	440	445	320

2. 修正の理由

当社は、最近の業績動向等について検討した結果、2021年2月16日に公表しました『2021年12月期～2023年12月期中期経営計画』の修正を行うことといたしました。

修正の背景は、2021年3月25日開催された当社の第13期株主総会において、株主提案が承認可決され代表取締役の異動を含む新経営体制が変更となりましたので、今般、新経営体制による事業計画の見直しを行ったことによります。

主な増減要因は、以下の通りです。

2021年12月期の事業収益につきましては、前回発表予想比492百万円(同18.0%)減少する見通しです。胃食道逆流症治療薬「tegoprazan(一般名)」の韓国における販売は前事業年度に比べて一段と拡大し、ペット用医薬品(犬の変形性関節症治療薬「GALLIPRANT®」、犬の食欲不振症治療薬「ENTYCE®」および猫の体重減少管理の薬「ELURA™」)についても同様に堅調な増加を見込んでおります。しかしな

※本資料は、投資者に対する情報提供を目的として事業計画等を記載しており、投資勧誘を目的としたものではありません。

当社の事業計画に対する評価及び投資に対する決定は、投資者ご自身の判断において行われるよう、お願いいたします。

がら、新型コロナウイルス感染症の世界的流行による経済活動への影響は現在も続いており、上市品の販売への影響、臨床試験施設の閉鎖、提携先企業における研究開発活動の制限、導出交渉の遅延等が生じております。このため、本事業年度におけるこれまでの実績値と導出交渉等の現状と照らし合わせた結果、より蓋然性の高い値として今回の事業収益予測値を算出しました。事業費用につきましては、前臨床試験を含む委託試験等の研究開発費が翌期にずれ込んだため、前回発表予想比133百万円（同5.7%）減少する見通しです。

2022年12月期の事業収益につきましては、テゴプラザンを中心とする上市品から得られるロイヤルティ収入の堅調な増加を見込んでおります。なお、tegoprazanの中国での開発は順調に進捗しております。当社は、同薬の販売開始時期を2022年第1四半期と想定しており、当局承認及び上市に伴うマイルストンの受領を見込んでおります。その他の契約関連収入をあわせた当該年度の事業収益の見通しを精査した結果、前回発表予想比31百万円（同1.0%）減少する見通しとなりました。事業費用計画につきましては、研究開発基盤の拡充、前臨床試験を含む委託試験等の研究開発費の増加を見込み、同117百万円（同5.2%）増額する見通しとなりました。

2023年12月期の事業収益につきましては、前回発表予想比326百万円（同12.2%）増加する見通しです。2022年12月期と同様に、テゴプラザンを中心に上市品の販売が順調に推移し、ロイヤルティ収入が堅調に増加すると見込んでおります。その他、提携先における開発の進捗に伴うマイルストーン収入や新規契約等によるその他の契約関連収入についても増加を見込んでおります。事業費用につきましては、研究開発の進捗に基づく委託試験や治験申請準備等の関連費用により、前回発表予想比85百万円（同3.8%）増額する見通しです。

以上の結果、2021年12月期の業績予想を事業収益2,246百万円（前回発表予想値2,738百万円）、事業費用2,184百万円（同2,317百万円）、営業利益61百万円（同420百万円）、経常利益184百万円（同427百万円）、当期純利益118百万円（同343百万円）に修正いたします。2022年12月期については、事業収益2,928百万円（同2,959万円）、事業費用2,372百万円（同2,255百万円）、営業利益556百万円（同704百万円）、経常利益563百万円（同719百万円）、当期純利益464百万円（同610万円）、2023年12月期については、事業収益3,009百万円（同2,683百万円）、事業費用2,327百万円（同2,242百万円）、営業利益681百万円（同440百万円）、経常利益686百万円（同445百万円）、当期純利益561百万円（同320百万円）に修正いたします。

当社は、今回公表する中期経営計画の修正に基づき、新経営体制による新たな事業計画の遂行を進めてまいります。

なお、新型コロナウイルス感染症の収束の時期等の見通しははまだ定まっておらず、当社グループの中長期業績への影響は現時点では見通すことが困難な状況ですが、今後、当社の事業環境の変化等により修正の必要性が生じた場合には、速やかに開示してまいります。

※ 修正後の「2021年12月期～2023年12月期中期経営計画（修正）」は、次ページ以降をご参照下さい。

※ 将来の事象に関わる記述に関する注意

業績予想につきましては、発表時現在において入手可能な情報に基づき作成したものであり、実際の業績は、今後起こりうる様々な要因によって予想数値と異なる場合があります。

以上

※本資料は、投資者に対する情報提供を目的として事業計画等を記載しており、投資勧誘を目的としたものではありません。
当社の事業計画に対する評価及び投資に対する決定は、投資者ご自身の判断において行われるよう、お願いいたします。



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

2021年～2023年12月期

中期経営計画

2021年6月30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。



RaQualia
innovators for life

企業理念

ビジョン・経営理念・当社の軌跡



innovators for life

ビジョン

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

経営理念

ラクオリア創薬で働く一人ひとりが、「**Life**（生命、生きるもの、人生）」の尊さを思い、創薬を通じて人々の健康に貢献します

文化

高い志を胸に「**Life**（生涯）」を通じて新たな価値を創造していく「**Innovator**」であり続けます



創薬企業としての成長の軌跡

RaQualia
innovators for life

2008年の創業以来、2011年のJASDAQ上場を経て成長を重ね、2017年および2019年にそれぞれ動物用とヒト用の医薬品上市を成し遂げることができました



ヒト用医薬品
K-CAB®を販売開始

動物用医薬品・GALLIPRANT®、
ENTYCE®を販売開始

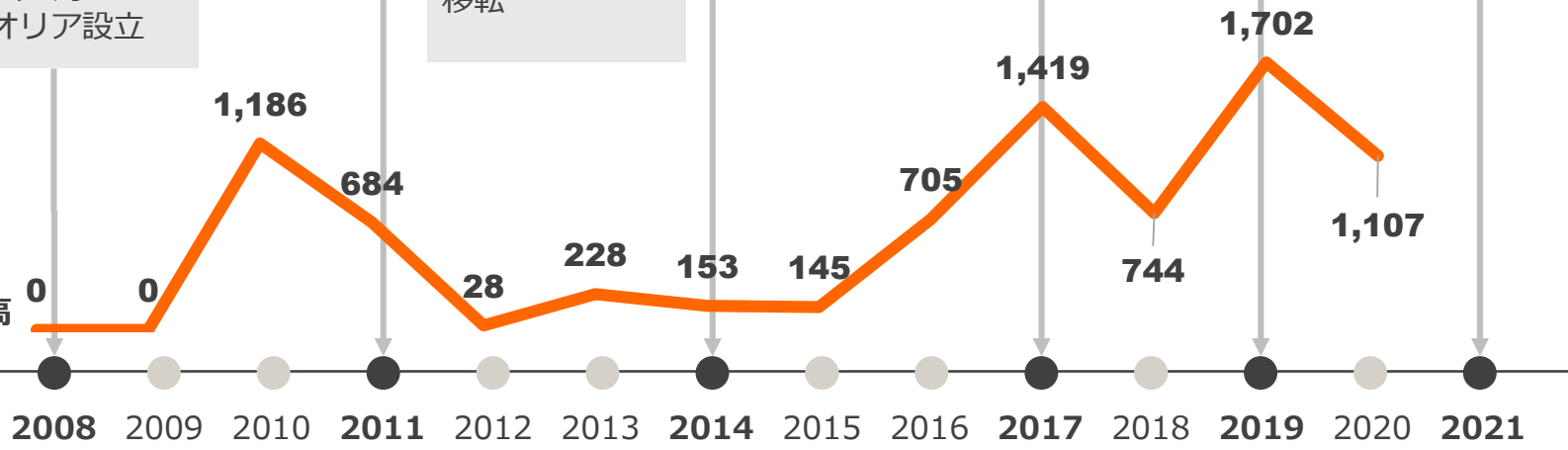
動物用医薬品
ELURA™を販売開始

JASDAQ上場

ファイザーから
スピンアウト
2008年2月
ラクオリア設立

名古屋大学内へ
創薬研究部門を
移転

連結売上高
(百万円)





RaQualia
innovators for life

事業環境の認識



社会・政策

- 少子高齢化の進行・疾病構造の変化
- わが国における医療費抑制策
- 新薬創出への変わらぬ期待
- 新型コロナウイルス感染症による社会の変容と規制の変化



科学・技術

- バイオ技術の進化（ゲノム創薬、バイオ医薬品、疾患モデリング等）
- 医療現場のデジタルトランスフォーメーション
- AI・ビッグデータ
- 新モダリティ関連技術



製薬産業の 動向

- 標的疾患トレンドの変化
- 新薬創出における創薬ベンチャーの貢献度上昇
- AI・ビッグデータの創薬応用
- 医薬品モダリティの多様化（核酸医薬、遺伝子治療、デジタル治療）



厳しいグローバル競争

- 欧米の巨大企業群
- 頻繁な合従連衡
- 海外では新薬の6割が創薬ベンチャー起源
- 日本は医薬品輸入超過

大きい事業リスク

- 新薬創成の難易度は非常に高い
 - ・ 約15年の期間
 - ・ 数百億円以上の費用
 - ・ 低い成功確率

特許の特殊性

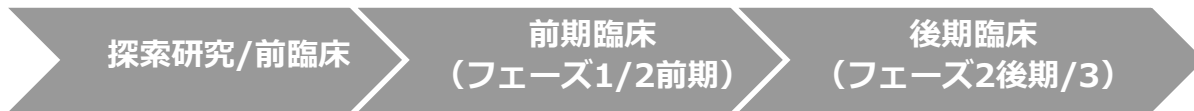
- ごく少数の特許で製品が保護されている
- 特許期間満了後の後発品参入で売上が急激に減少

大きいリスクと低い成功確率を乗り越えた少数の製品が収益を支える
新たな医薬品/治療法の創出が企業成長の生命線を握る

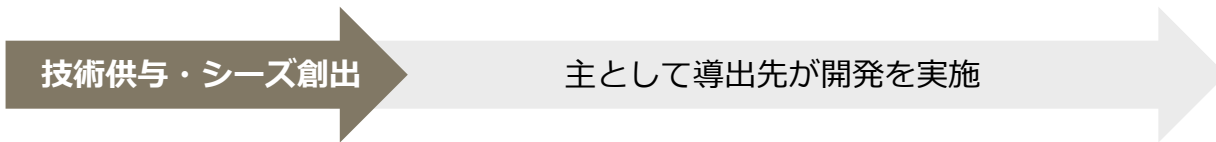
事業リスクの分散化と新薬のシーズの共有のために
創薬ベンチャーが果たすべき役割は大きく、
これからも拡大し続けると予想される



疼痛・消化器領域の創薬シーズとイオンチャネル創薬技術をコアとする パイプライン型創薬ベンチャー



プラットフォーム型



創薬シーズを創出する技術（プラットフォーム）が中核
競争排他的な技術をもって複数の企業と提携してキャッシュフローを確保

技術の競争力と汎用性が鍵

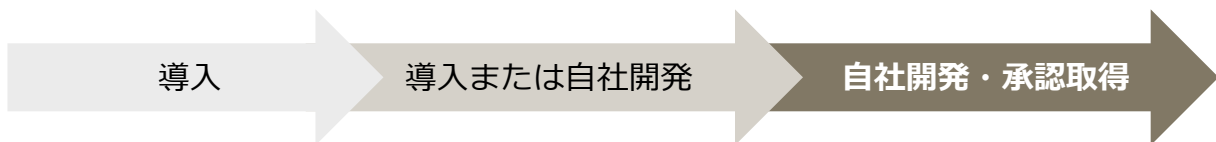
✓ パイプライン型



創薬シーズ創出から自社開発まで幅広い段階の価値連鎖を目指す
自社開発の進展に応じてリスクとリターンが大きくなる

創薬力、創薬シーズの魅力と
研究開発戦略が鍵

導入開発型



有望パイプラインを獲得し承認取得に向けた開発を実施
科学的な側面をある程度クリアしている反面、後期臨床開発で多額の投資を要する

目利きと臨床開発力が鍵



RaQualia
innovators for life

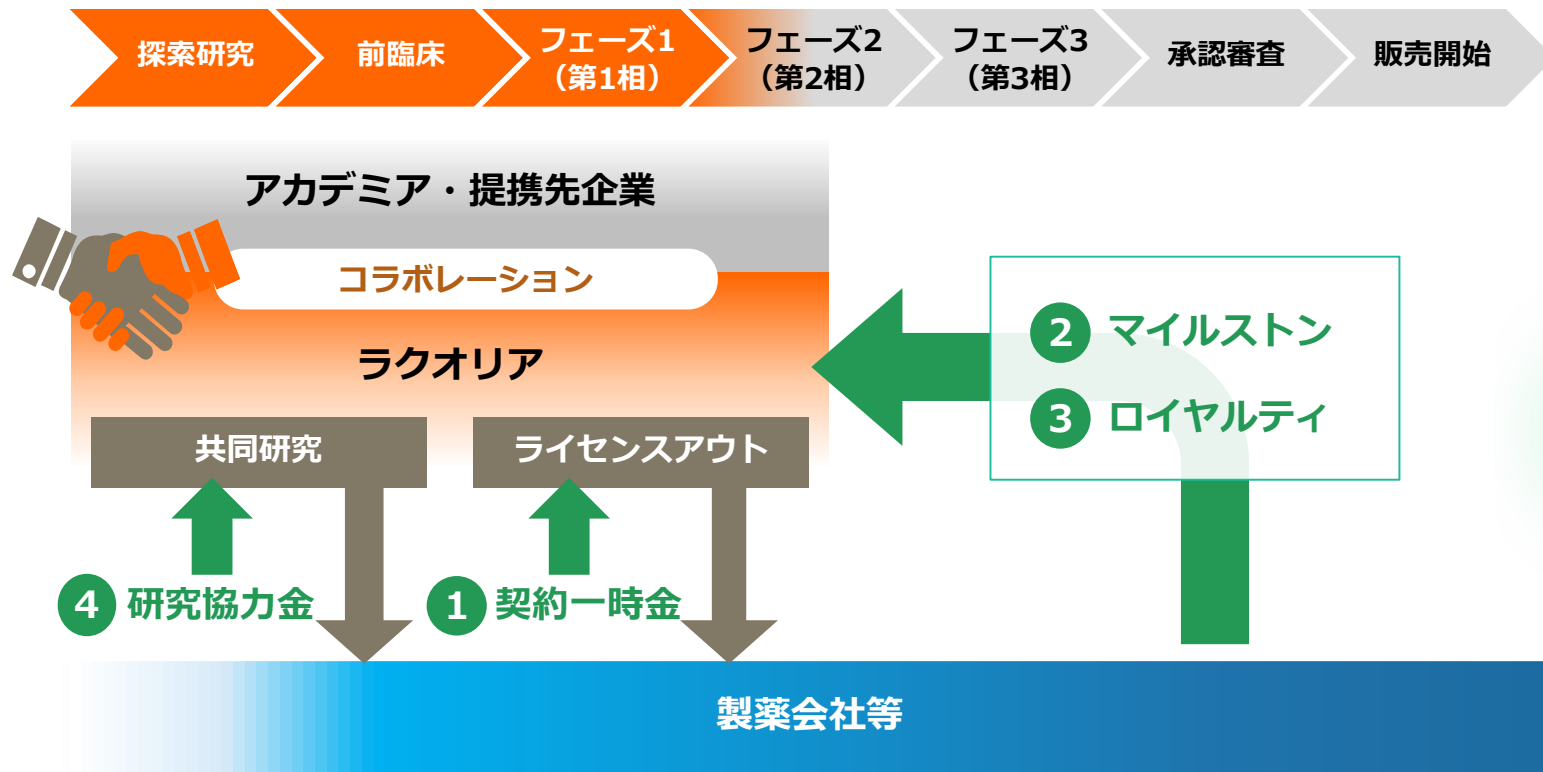
ビジネスモデル

事業内容・収益構造



idea to proof-of-value

最新のサイエンスとパートナーリングに立脚して、いまだ満たされていない医療ニーズを充足する画期的な新薬の候補を継続的に創出します
製薬会社等への導出を通じ、継続的な成長を支える事業収益を獲得します



一日でも早く革新的な新薬を患者さんへお届けします



基本：製薬会社等への導出による契約一時金、マイルストーン、ロイヤルティ
その他：製薬会社との共同研究による研究協力金

1

**契約一時金
収入**

… ライセンスアウトや共同研究開発の契約締結時に得られる収入です。当社発の新薬候補の価値とポテンシャルへの対価です

2

**マイルストーン
収入**

… 導出先企業での研究開発の進展に応じて得られる収入です。「新薬候補」を「新薬」にする過程で重要な障壁を越えることで得られます

3

**ロイヤルティ
収入**

… 導出先企業による売上高に応じて得られる収入です。ロイヤルティ収入の増加は、当社発の新薬が医療に貢献していることの証です

4

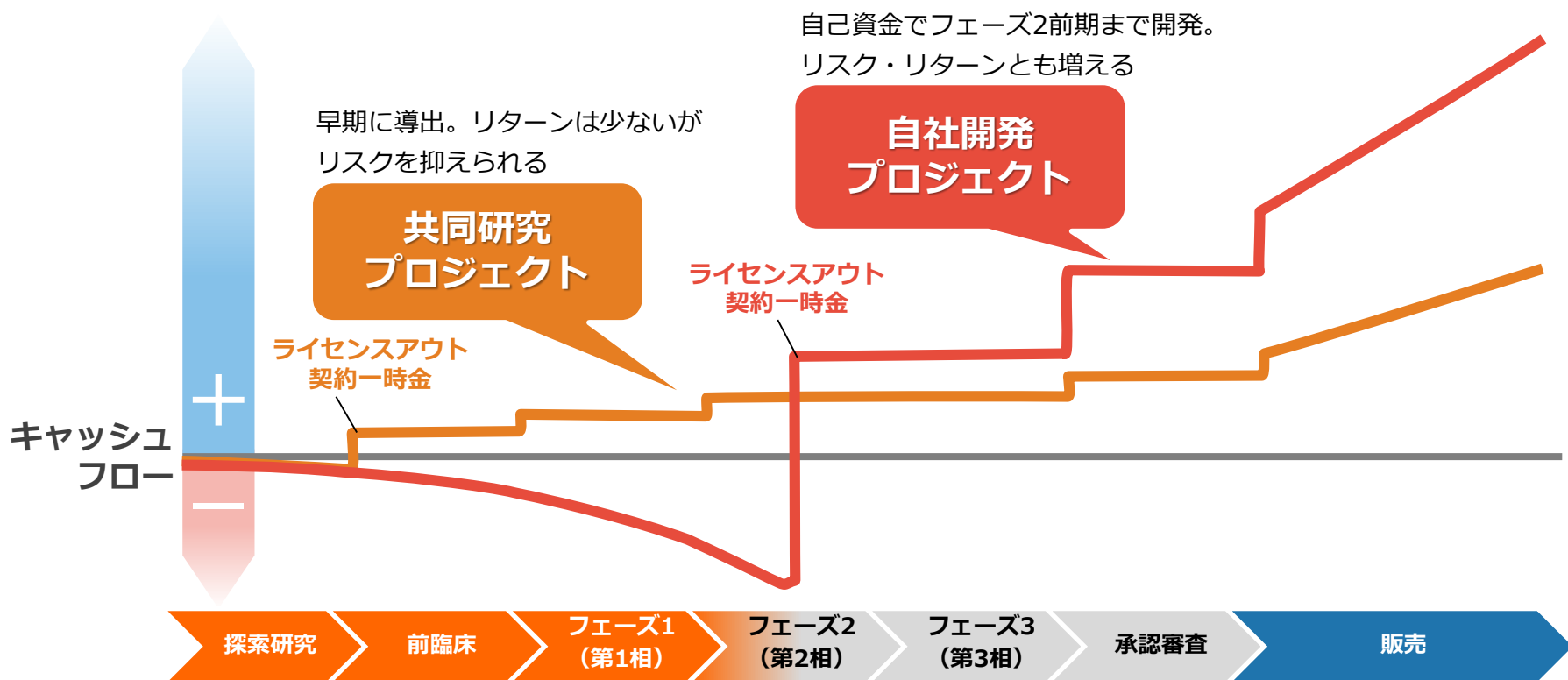
**研究協力金
収入**

… 早期からの提携によって、新薬候補の創出に向けた共同研究を行う際に提携先から得られる収入です。当社の創薬技術に対する対価です



- **自社開発プロジェクト**：ハイリスク・ハイリターン型
- **共同研究プロジェクト**：ミドルリスク・ミドルリターン型

これらを組み合わせたポートフォリオを構築することで、**バランスの取れたリスク・リターン**を目指す

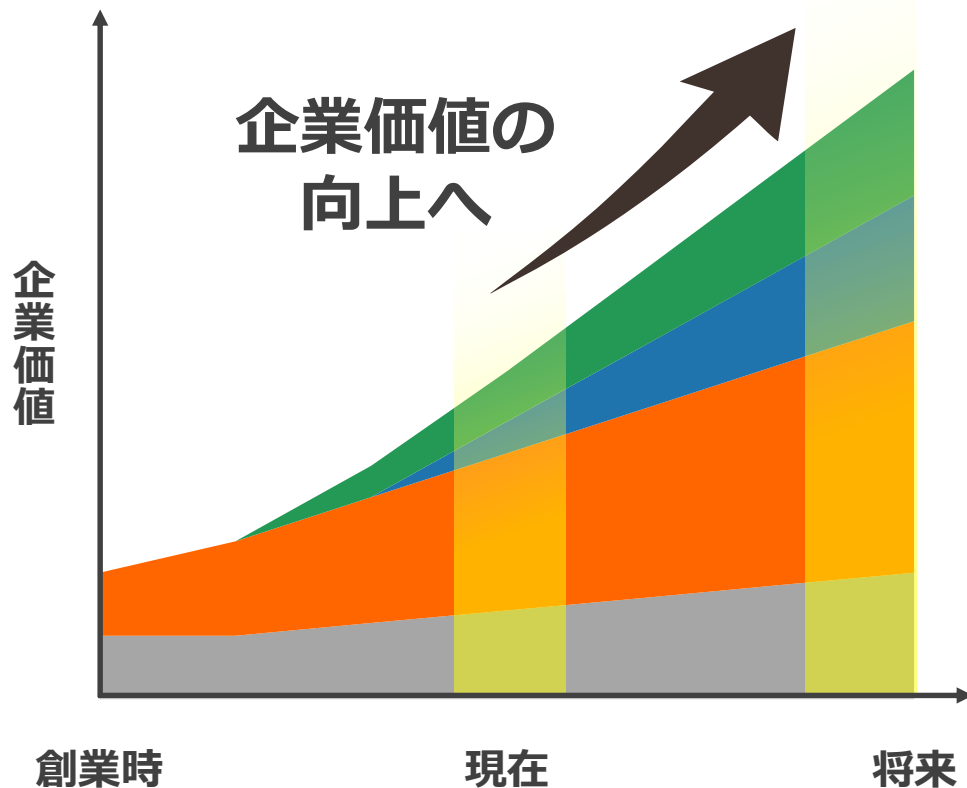


(図中の契約一時金、マイルストーン、ロイヤルティ収入等はイメージです。マイルストーン収入が得られるタイミングは契約内容によって異なります。)



企業価値向上のために自社シーズの拡充に重点をおいた施策を行います

■ アセット ■ 自社シーズ ■ 共同研究：アカデミア ■ 共同研究：企業



成長施策の想定 (※)



※「成長施策の想定」は取りうる施策の全体像を示したものであり、2021年度から2023年度において取り組む具体的な施策については個別に検討した上で実施します



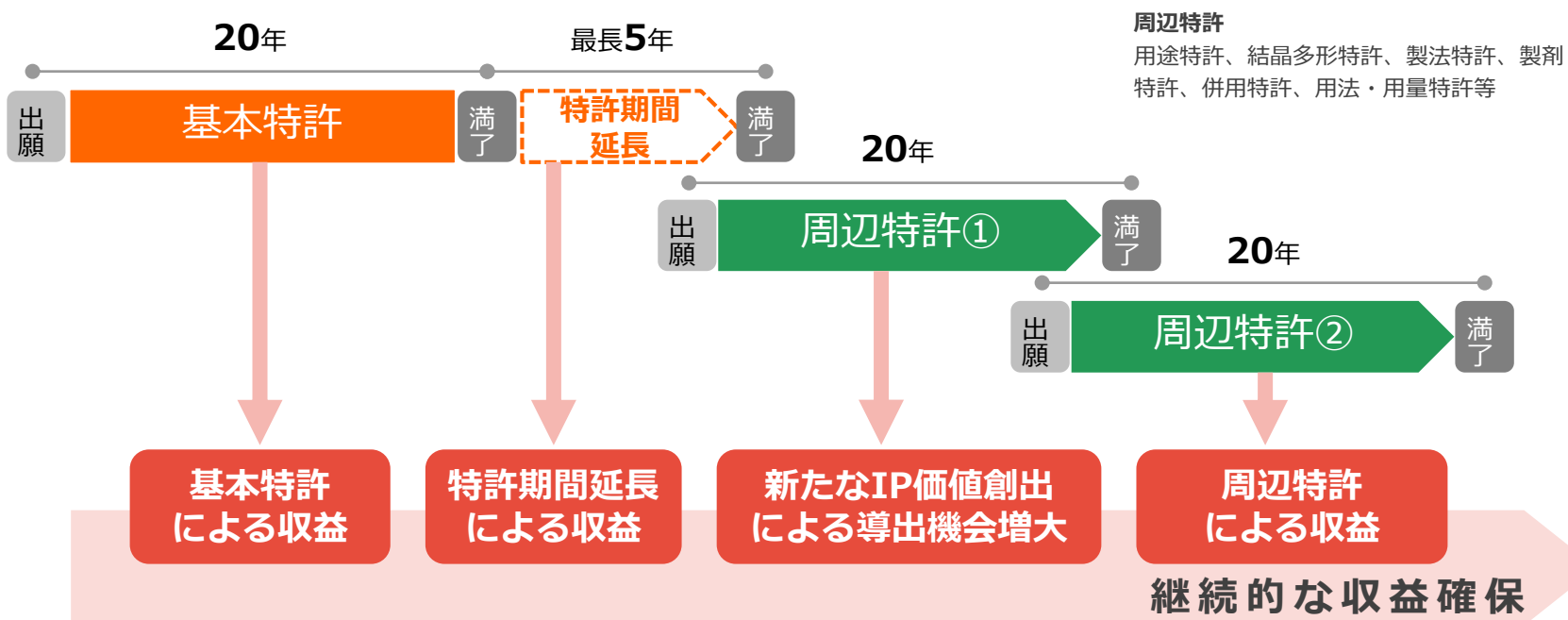
● 価値の高い知的財産ポートフォリオの構築

毎年継続的に基本特許（物質）を出願し、世界の主要国において権利化。公的助成金の活用によるコスト削減への取り組み

● LCM (Life Cycle Management) の展開

基本特許（物質特許）出願後、特許延長、周辺特許出願によりライフサイクルを延長。独占排他権の維持によって継続的な収益を確保し、当社パイプラインの価値を最大化

LCMによる独占排他権維持のイメージ





RaQualia
innovators for life

財務計画・事業目標

収益計画・事業費用・事業目標



今期の業績予想および今後の業績目標

中期経営計画

RaQualia
innovators for life

2021年12月期は**黒字達成を目指し**

2022年からバリューアップのため**自社臨床開発を目指す**

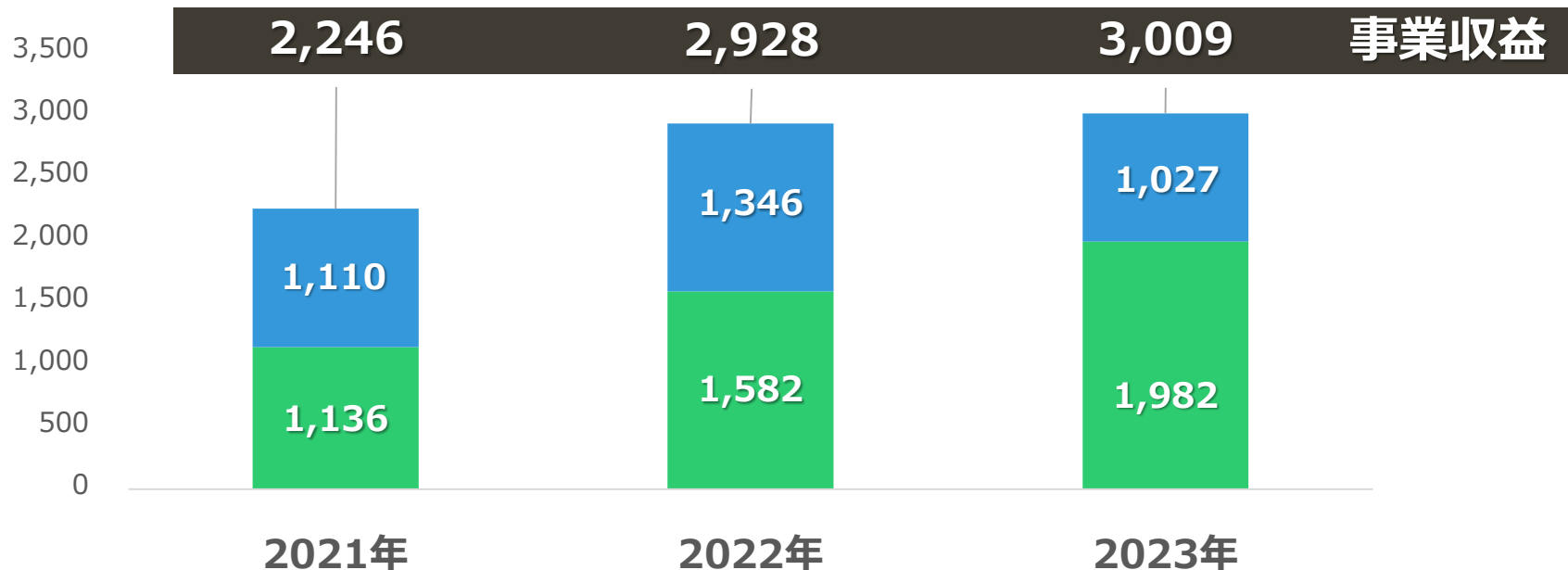
単位：百万円

	計画	目標	
	2021年12月期	2022年12月期	2023年12月期
事業収益	2,246	2,928	3,009
事業原価	289	277	237
事業費用	1,895	2,094	2,090
営業利益	61	556	681
経常利益	184	563	686
当期純利益	118	464	561
為替（米ドル/日本円）	110.00	110.00	110.00



■ ロイヤルティ ■ その他（契約一時金・マイルストーン）

単位：百万円



2021年

テゴプラザンを中心に医薬品の販売が堅調に伸び、販売ロイヤルティが11億円に到達
その他は、旭化成ファーマ社、マルホ社およびSyros社からマイルストーン受領等

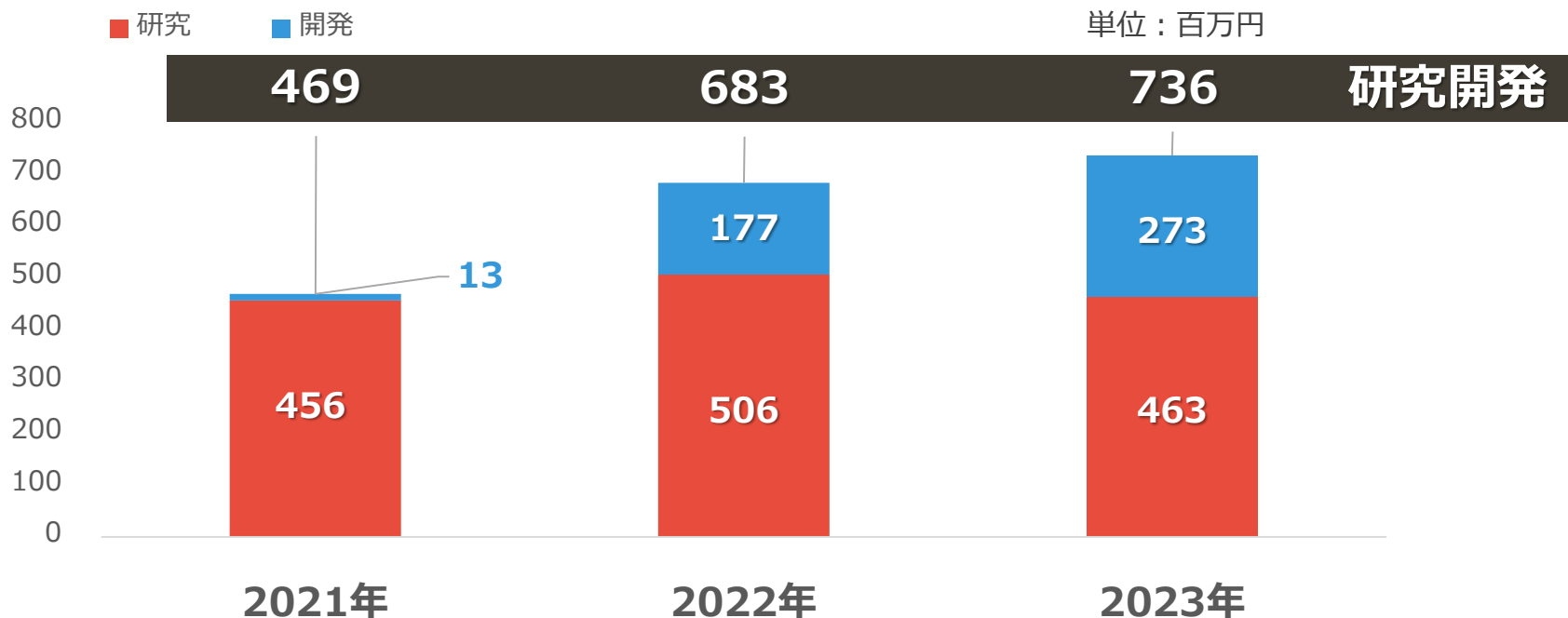
2022年

Q1にテゴプラザンの中国上市が見込まれており、販売ロイヤルティが15億円に到達
その他は、テゴプラザンの中国承認および上市によるマイルストーン受領等

2023年

テゴプラザンを中心に医薬品の販売が堅調に伸び、販売ロイヤルティが19億円に到達
その他は、開発中の医薬品からのマイルストーンや探索段階のシーズの新規契約等(※)

※契約一時金・マイルストンの最大化を目指していますが、現時点では導出先探索中であるため、数値計画上は成功確率等を勘案しております。



2021年

対前年比196%の研究開発費を投じ、開発候補化合物創出(※)に向けた取り組みを推進
 目標：2023年までに2個の開発候補化合物を創出

2022年

自社開発の実施に向け、グレリン受容体作動薬の前臨床試験ほかで177百万円を支出
 探索研究プログラムの進展および新領域・新技術開拓を目的として資金を投下

2023年

研究開発費は前年水準からさらに増加（対前年比7.8%増額）
 選抜した1プログラムの臨床開発準備費用を中心に開発費273百万円を支出予定

※開発候補化合物：前臨床試験以降の段階に進める新薬候補化合物。当社では開発候補化合物の前臨床試験以降を「開発」としています。



事業計画見直し前後の差異（1）

単位：百万円

見直し前 <small>2021年2月16日公表</small>	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益
2021年度通期（計画）	2,738	2,317	420	427	343
2022年度通期（目標）	2,959	2,255	704	719	610
2023年度通期（目標）	2,683	2,242	440	445	320

見直し後	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益
2021年度通期（計画）	2,246	2,184	61	184	118
2022年度通期（目標）	2,928	2,372	556	563	464
2023年度通期（目標）	3,009	2,327	681	686	561

2021年

事業収益は前回発表比492百万円（同18.0%）の減少。ロイヤルティ収入の実績値と導出交渉の現状を照らし合わせた結果、より蓋然性の高い値に修正。事業費用減額で営業利益を確保

2022年

事業収益は前回発表比31百万円（同1.0%）の減少。前臨床試験の実施等、新領域・新技術開拓のための投資を含む研究開発費の増加により、事業費用は同117百万円（同5.2%）増額

2023年

事業収益は前回発表比326百万円（同12.2%）の増加。ロイヤルティ収入の増加、マイルストーン収入および新規契約等による収入増。研究開発費の増加により、事業費用は同85百万円（同3.8%）増額

※本ページにおける事業費用はP.16記載の事業原価と事業費用を合算した額です。



本年2月16日発表の中期経営計画の骨子

早期導出を目指した創薬研究プラットフォームの構築・強化

- 産学官連携を中心とした創薬共同研究
- 継続的な開発候補化合物の創出

ヒト向け医薬品の上市と効率的な導出体制の構築

- 早期導出に向けた導出体制の構築・強化
- 提携先企業との信頼関係の構築

海外展開の加速

- 米国サンディエゴ市の米国支店設立



追加/ 拡充

今回の計画修正

プログラム価値の向上を目的とした取り組みの強化

- 自社開発（前臨床・臨床）の実施
- 開発候補化合物創出への注力は変わらず

導出活動・提携先との協業関係の維持・強化

- 導出体制および導出活動の強化
- 導出先企業との協業による開発進展・収入確保

海外展開は体制と方針を一部変更して継続

- 米国支店の閉鎖
- リモートによる活動でグローバルの情報収集・ネットワーキングを展開

領域の拡充・新技術の獲得に向けた取り組みを強化

- イオンチャネル技術の強化と新技術の獲得
- 自社内技術開発と戦略的な外部提携



収益

2021年12月期から2023年12月期の3期の黒字化

研究

2023年12月期までに開発候補化合物2個を創出

開発

2023年12月期までにグレリン受容体作動薬の前臨床試験終了
2023年12月期までに導出準備プログラムの中から1つ次段階の治験申請

導出

導出準備プログラムおよび新規医薬品候補化合物から
年1件の契約締結

時価総額向上



P-CAB : 韓国での販売は好調持続、中国他で承認取得・上市へ向けて進展

- HK innoN. Corp. (以下「HKイノエン社 (韓国)」) によるtegoprazan (一般名、韓国商品名 : 『K-CAB®』) の韓国における販売は一段と拡大へ
- 中国においては、HKイノエン社 (韓国) のサブライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group (以下「Luoxin社 (中国)」) が、2022年第1四半期に新薬承認を取得し上市する見通し
- 日本においては第2相臨床試験の実施に向け、当社とHKイノエン社 (韓国) との協力関係の築き方等を含め、あらゆる可能性について検討中
- 中南米、東南アジアにおいて、HKイノエン社 (韓国) のサブライセンス先が承認申請中あるいは準備中
- HKイノエン社 (韓国) がROW (Rest Of World) 等でさらにサブライセンス先を開拓、締結へ

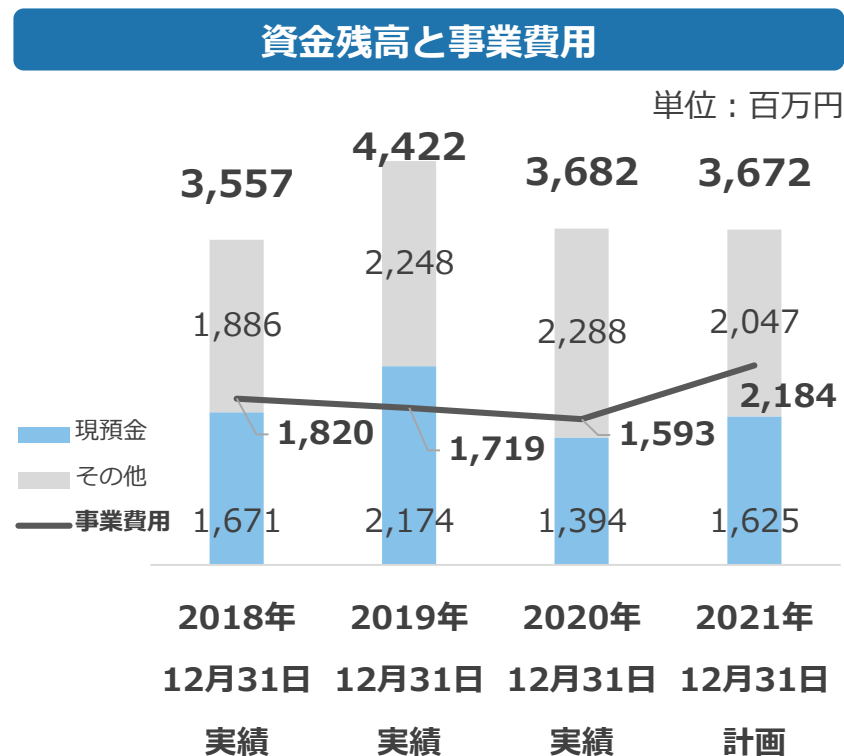
ペット用医薬品は堅調に推移

- grapiprant (一般名) : Elanco Animal Health Inc. (以下「エランコ社 (米国)」) による犬の骨関節炎治療薬『GALLIPRANT®』の米国・欧州・日本における販売は順調に拡大。販売地域はさらに拡大する見込み
- capromorelin (一般名) : エランコ社 (米国) による犬の食欲不振症治療薬「ENTYCE®」の米国販売は着実な歩み。慢性腎疾患の猫の体重減少管理の薬『ELURA™』は米国で上市、今後の売上拡大に期待



- 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みます。
 ※本ページ記載の事業費用はP.16記載の事業原価と事業費用を合算した額です。



RaQualia
innovators for life

上市品の状況

ペット用医薬品・テゴプラザン



EP4拮抗薬 GALLIPRANT®



一般名	grapiprant (グラピプラント)
適応症	犬の変形性関節症
販売元	エランコ社 (米国)

販売状況

- 日米欧で販売中
- 非ステロイド性消炎鎮痛剤のトップブランドに成長

グレリン受容体作動薬 ENTYCE®/ELURA™



一般名	capromorelin (カプロモレリン)
適応症	犬の食欲不振 (Entyce®) 慢性腎疾患の猫の体重減少管理、猫の食欲不振 (Elura™)
販売元	エランコ社 (米国)

販売状況

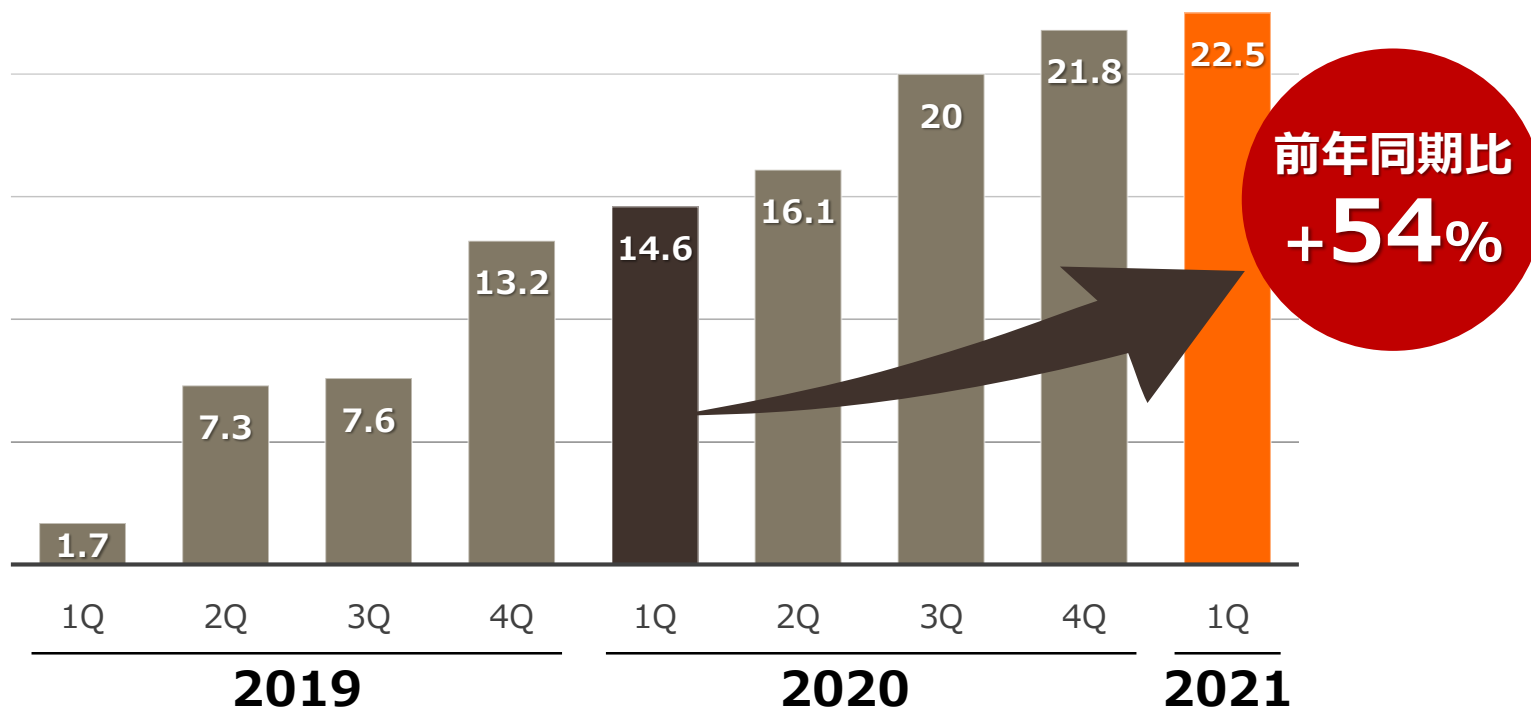
- Entyce® : 米国で販売中、売上は堅調に推移
- Elura™ : 2021年3月 米国販売開始



K-CAB®の韓国販売は好調に推移

- 右肩上がりの成長を継続
- 院外処方データは前年同期比で54%増

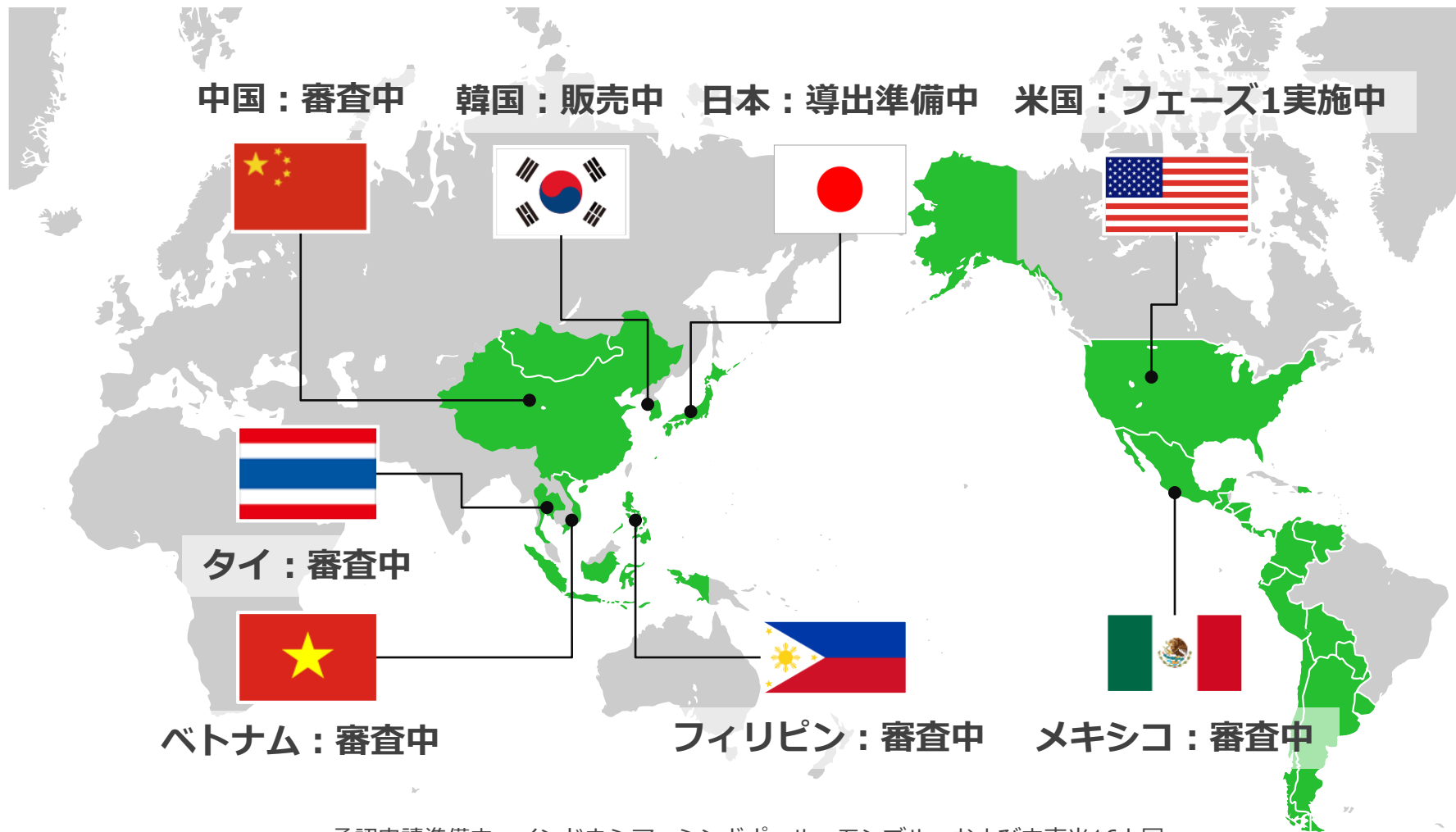
「K-CAB®」の韓国売上高の推移



院外処方データ (単位: 10億ウォン)
出典: UBISTデータ



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



承認申請準備中：インドネシア、シンガポール、モンゴル、および中南米16カ国



RaQualia
innovators for life

導出準備プログラムの状況

市場規模・競合環境・化合物の特長



5-HT₄部分作動薬の概要

RQ-00000010

中期経営計画

RaQualia
innovators for life

研究開発段階	第1相臨床試験（フェーズ1）終了（英国：健常人）
想定適応症	胃不全麻痺、機能性胃腸症、慢性便秘
対象地域	全世界
患者数	胃不全麻痺：約8万人（米国） 慢性便秘：約300万人（米国） 機能性胃腸症：約2000万人（米国）
既存薬	消化管運動改善薬：メトクロプラミド 慢性便秘：プルカロプリド*、エロビキシバット、モビコール、ルビプロストン等
市場規模	慢性便秘：450億円（全世界、ピークセールス予想）
製品機能の目標	胃不全麻痺：消化管運動亢進による胃排出促進効果、症状改善（胃もたれ、腹部膨満感、心窩部痛、悪心・嘔吐）および高い安全性を有する薬剤
競合	胃不全麻痺：プルカロプリド*およびレラモレリン*
差別化ポイント	5-HT ₄ 受容体に対する高い選択性、強い活性、低い原薬生産コスト
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許ほか周辺特許は主要国で登録済み、再審査期間を含む）

*日本未承認

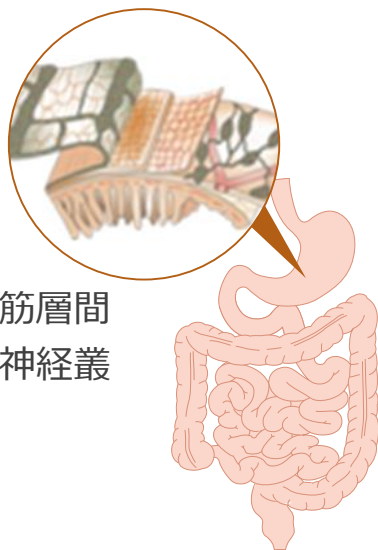
LOE (Loss of Exclusivity) : 独占期間の満了



- 非常に高い5-HT₄ 受容体選択性と活性
- 胃不全麻痺から便秘まで、幅広い薬効の期待
- フェーズ1 試験において、8日間投与で胃排出を促進

広い適応範囲

5-HT₄ 受容体は消化管の腸管神経系に発現



1 胃排出促進

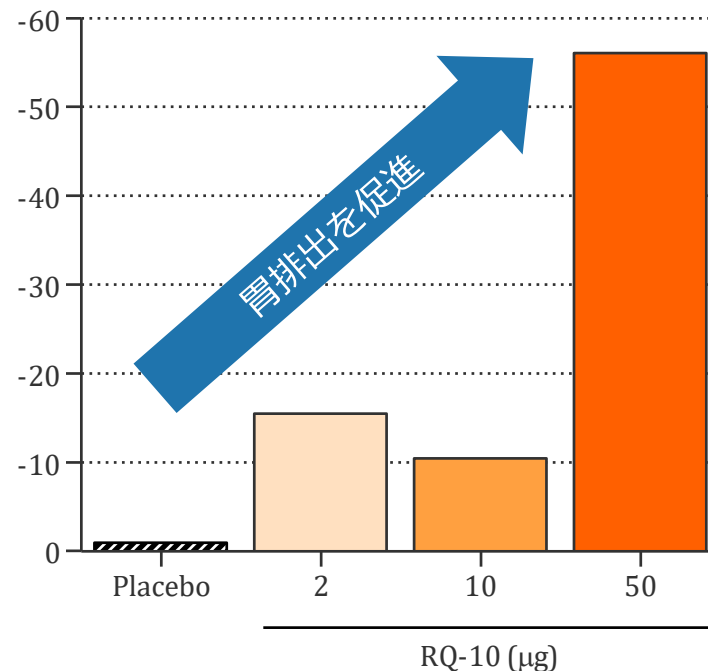
胃食道逆流症
機能性ディスペプシア
胃不全麻痺

2 腸管運動促進

慢性便秘
便秘型過敏性腸症候群
術後腸閉塞

臨床試験における胃排出促進

投与前に比べ、胃排出時間を短縮（健康成人）





5-HT_{2B}拮抗薬の概要

RQ-00310941

中期経営計画

RaQualia
innovators for life

研究開発段階	第1相臨床試験（フェーズ1）終了（英国：健常人および潰瘍性大腸炎（UC）患者）
想定適応症	下痢型過敏性腸症候群（IBS-D） 炎症性腸疾患におけるIBS様症状（IBD-IBS）
対象地域	全世界
患者数	西洋の成人の10-20%にIBS様の症状がありその40%が下痢型（IBS-D） 寛解期のIBD患者の40%にIBS様の症状 約7億人（全世界）
既存薬	IBS-D：リファキシミン*、エルクサドリン*、アロセトロン*/ラモセトロン等 IBD-IBS：無し
市場規模	IBS-D：900億円（全世界、ピークセールス予想）
製品機能の目標	IBS-D：便形状（軟便、水様便）や腹痛等の腹部症状を改善し、虚血性大腸炎等の懸念が無い薬剤
競合	ORP-101等
差別化ポイント	リファキシミン*との比較：抗菌剤ではない アロセトロン*/ラモセトロンとの比較：虚血性大腸炎や重篤な便秘の懸念が低い
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）

*日本未承認

LOE（Loss of Exclusivity）：独占期間の満了



- 5-HT_{2B} 受容体に対する高い選択性と、非常に強い活性
- フェーズ 1 試験の結果、高い忍容性と安全性を確認
- 寛解期UC患者において、排便時のすっきり感が増す傾向確認

既存薬の課題

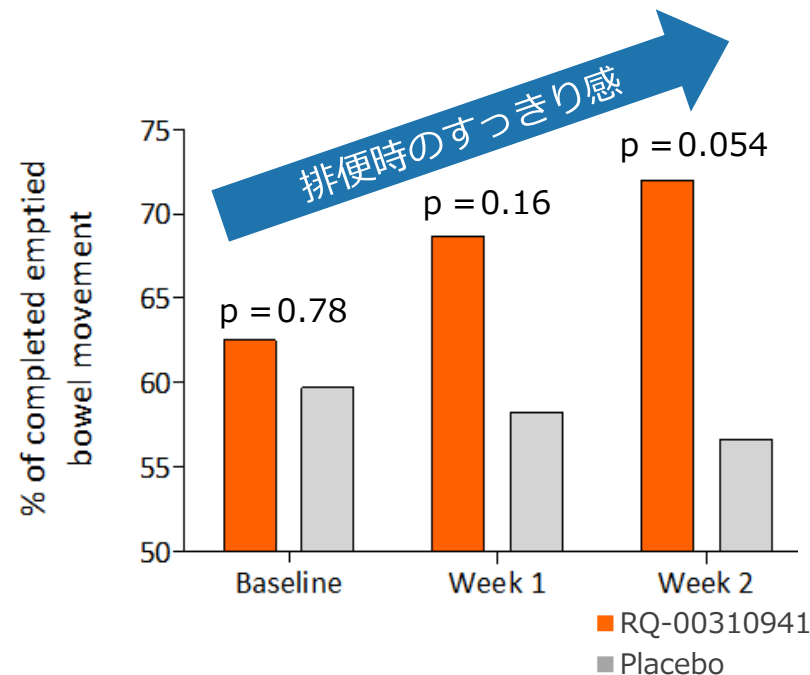
下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)

既存薬	ラモセトロン/ アロセトロン*	リファキシミン
作用機序	5-HT ₃ 受容体拮抗薬	抗菌薬
課題	虚血性大腸炎や重篤な便秘が発現するリスクあり	薬剤耐性のリスクあり

*日本未承認

UC 患者での臨床試験結果

150 mg を14日間投与 (N=10)





研究開発段階	第1相臨床試験（フェーズ1）検討中
想定適応症	胃不全麻痺、機能性胃腸症および術後イレウス
対象地域	全世界
患者数	胃不全麻痺：約8万人（米国） 機能性胃腸症：約2000万人（米国）
既存薬	メトクロプラミド（糖尿病性胃不全麻痺、FDAによる黒枠警告） エリスロマイシン（胃排出促進、抗生物質に対する耐性の可能性）
市場規模	胃不全麻痺：50億円以上（米国、ピークセールス予想）
製品機能の目標	空腹時の消化管運動亢進によって腹部症状を改善する薬剤
競合	胃不全麻痺：プルカロプリド*およびレラモレリン*
差別化ポイント	強い消化管運動亢進作用、および薬効用量での脱感作リスクの低さ
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）

*日本未承認

LOE（Loss of Exclusivity）：独占期間の満了



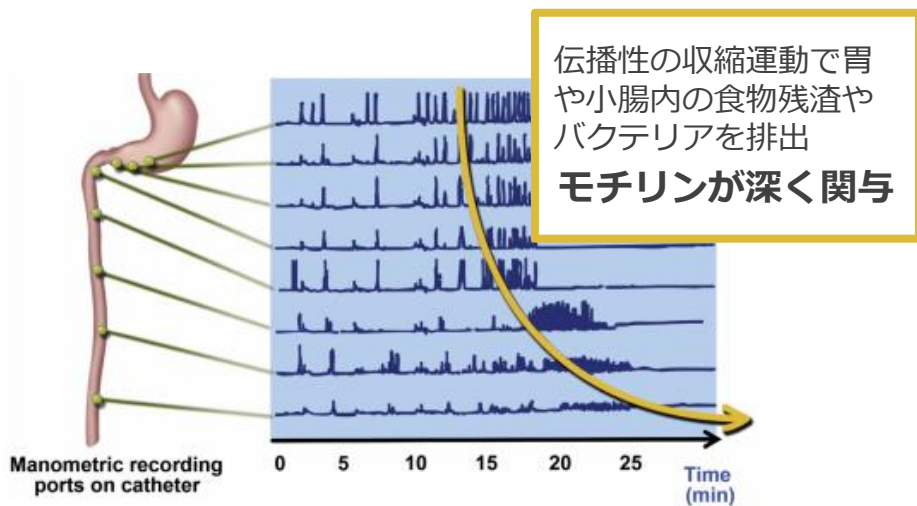
- モチリン受容体（ヒト）に対する高い作動薬活性
- 動物試験（イヌ胃運動）における強い薬効
- 薬効用量の反復投与による脱感作なし
- 胃不全麻痺：高いUnmet medical needs（安全な承認薬なし）

伝播性消化管収縮運動

Migrating Motor Complex (MMC)

MMCの異常

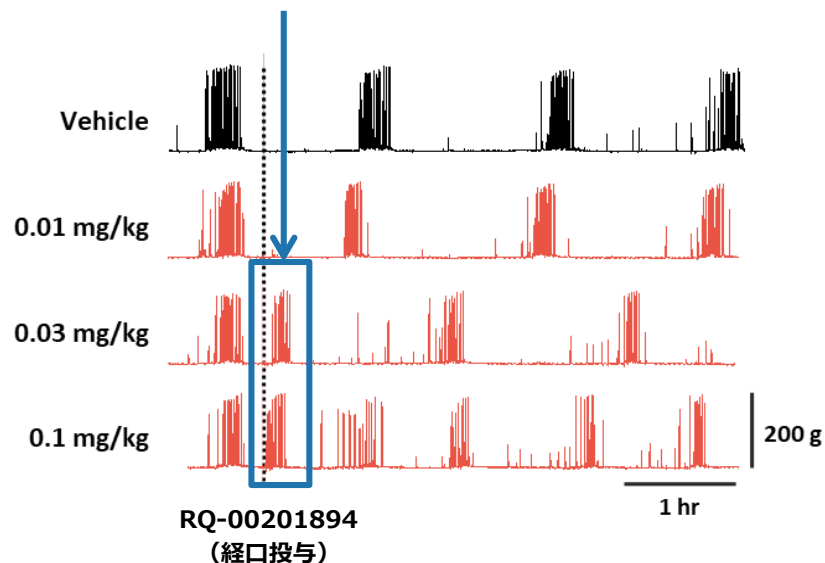
- 胃排出の遅延（胃不全麻痺）
- 腸内細菌の異常増殖
- 腸管の偽閉塞



画像出典：Gastroenterology 2016;150:1292-1304（一部改変）

イヌ胃前庭部の収縮における RQ-00201894の効果

低用量の経口投与直後から強い収縮運動が惹起される





研究開発段階	前臨床試験準備中
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



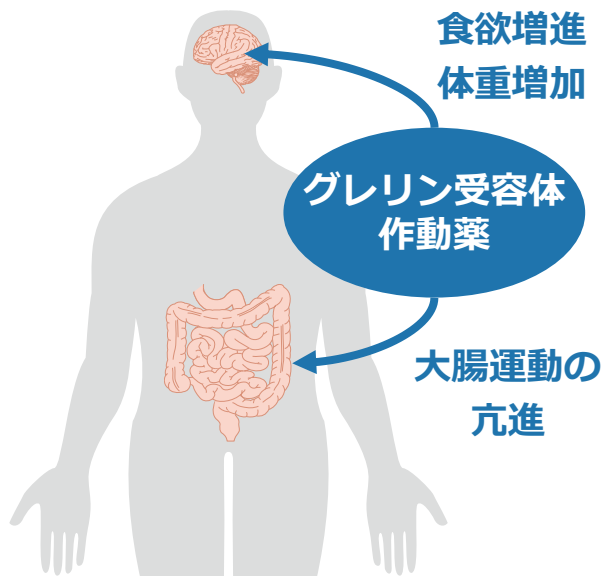
がん悪液質、および脊髄損傷に伴う便秘の双方に対する有効性が期待される化合物

● がん悪液質

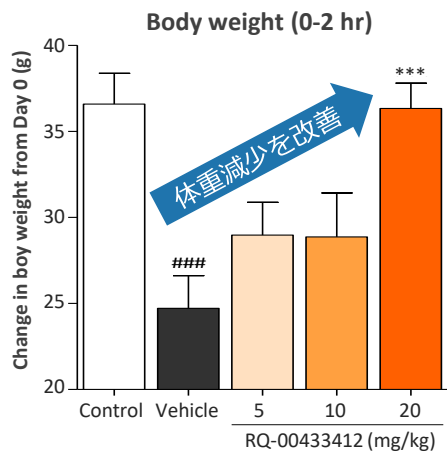
進行がん患者の初診時に約50%、終末期の80%に認められる。グレリン受容体作動薬は視床下部に働きかけ、食欲を増進、脳下垂体からの成長ホルモンの放出を促し、筋肉量増加および体重増加の作用を持つ

● 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

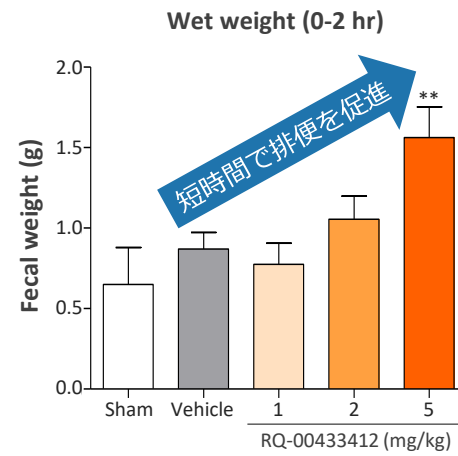


担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



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



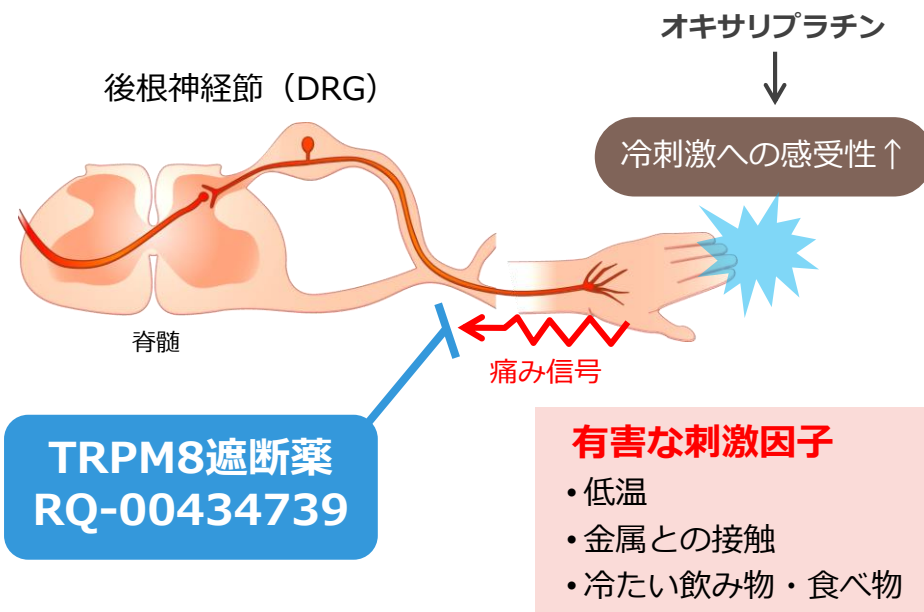
研究開発段階	前臨床試験準備中
想定適応症	抗がん剤（特にオキサリプラチン）起因性冷アロディニア
対象地域	全世界
患者数	100万人（日本、米国、欧州および中国）
既存薬	無し（一般的な鎮痛剤は奏功しない）
市場規模	200億円以上（日本、米国、欧州および中国、ピークセールス予想）
製品機能の目標	オキサリプラチンによって誘発される冷アロディニア症状を改善する薬剤
競合	冷アロディニアを主適応して開発中の薬剤無し
差別化ポイント	冷アロディニアを適応とした既存薬/開発品は存在しない
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許は主要国で登録済み、再審査期間および周辺特許出願を含む）

LOE（Loss of Exclusivity）：独占期間の満了

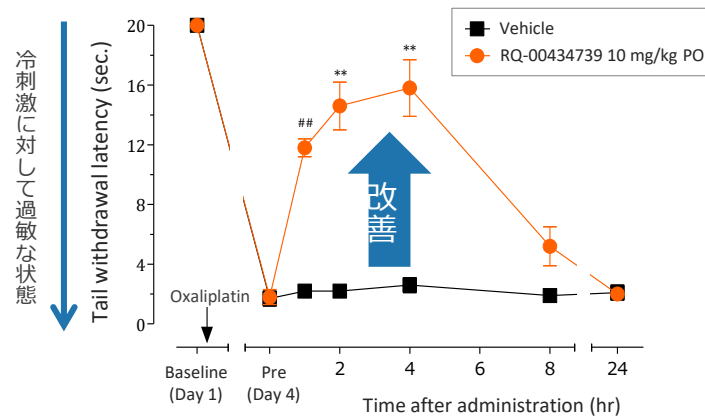


冷感受容体であるTRPM8を直接阻害し、抗がん剤起因性冷アロディニアの発症を抑える化合物

- オキサリプラチンを用いたがんの化学療法を受けた患者の約90%が冷感に対する感受性の亢進（冷アロディニア）を発症
- オキサリプラチン投与のたびに冷アロディニアが生じ、治療の障害となっている



オキサリプラチン誘発サル神経障害モデルにおけるRQ-00434739の効果



P<0.01 (Student's t-test), ** P<0.001 (Aspin-Welch's test) vs. Vehicle



- レチノイン酸誘導体 (レチノイド) で既存薬に比べて安全性に優れた薬剤である
- レチノイン酸受容体の α サブタイプ (RAR α) 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Syros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RAR α 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)



タミバロテンの開発計画



TM-411

中期経営計画

RaQualia
innovators for life

- Syros社は未治療高リスクMDS治療薬として2025年の承認を目指す
- テムリックが権利を有するアジアでの開発については、2022年のライセンス契約締結を目指す

ラ ライセンス契約
 申 承認申請
 承 承認

コード	適応	対象地域	2021				2022				2023				2024				2025												
			1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q									
TM-411		米国	P3																											承	上市
	MDS	日本					ラ				診断薬準備														P 2/3					→	
		中国					ラ				診断薬準備														P2					→	
	AML	米国				P2											P3													→	
	NB	日本	P 1/2								以降の開発計画については導出先で検討中																				
	PC	日本		P 1/2																						P3				→	



RaQualia
innovators for life

事業計画



導出済みプログラム（ヒト）

RaQualia
innovators for life

- **P-CAB**：韓国での販売は順調に推移、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
- **ジブラシドン**：Meiji Seikaファルマ社において、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
			インドネシア、シンガポール、モンゴル、中南米								準備中
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					
ジブラシドン	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）

RaQualia
innovators for life

- **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**：あらかじめ定めていた成果を達成し、引き続きマルホ社にて開発中
- **P2X7受容体拮抗薬**：旭化成ファーマ社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ファーマ社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					承認申請	承認	販売
				探索	前臨床	P1	P2	P3			
5-HT4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）

RaQualia
innovators for life

- **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™**：犬向けのENTYCEに加えて猫向けの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）				



保有パイプラインの前進

導出先との提携および/または自社開発によって開発段階を上げ
上市により近づける

価値の高い開発候補品の創出

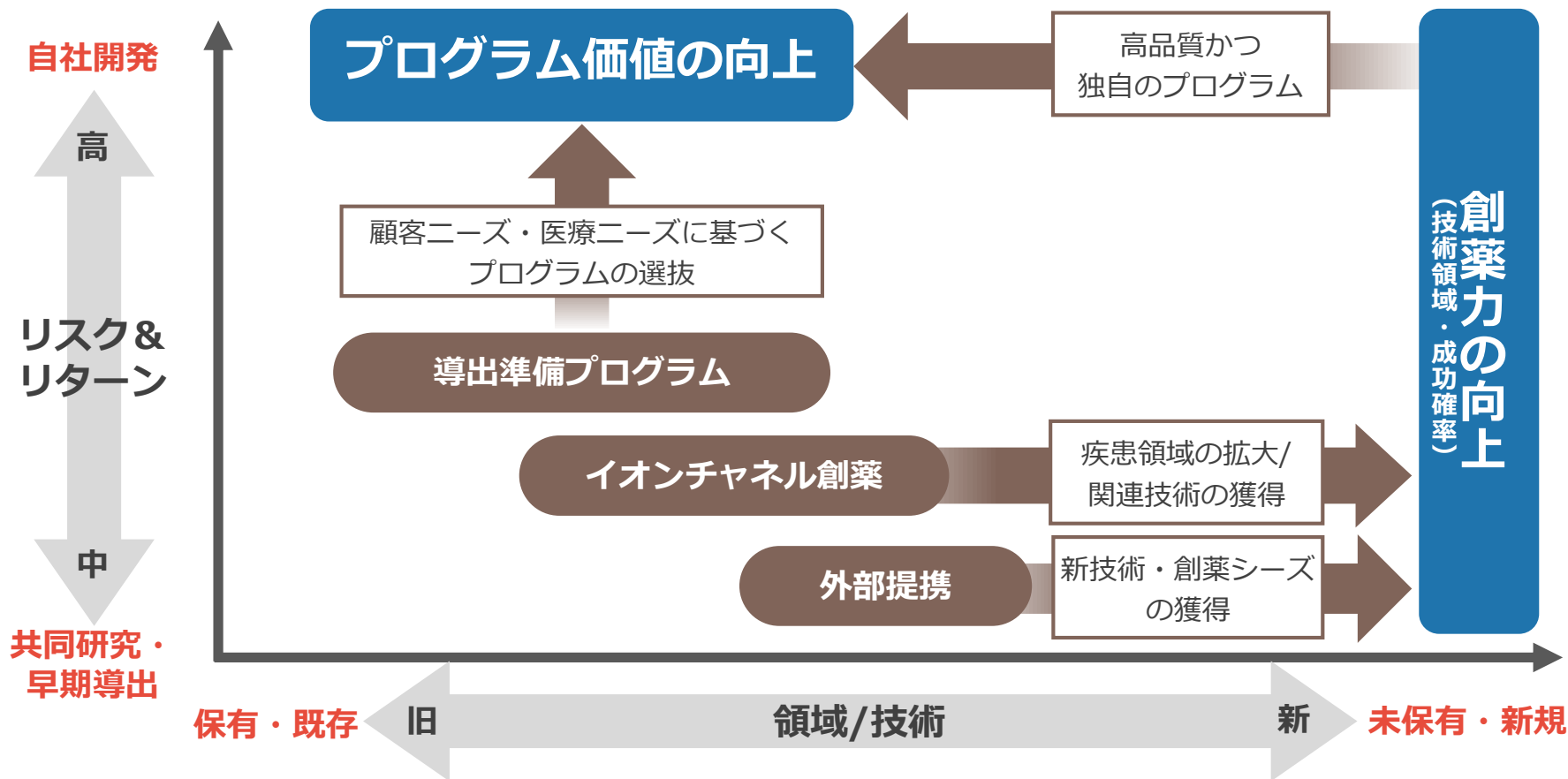
独自性の高い良質な開発候補品を途切れなく供給する

領域の拡充・新技術の獲得

イオンチャネル技術の強化と新技術の獲得を自社内の技術開発と
外部提携によって実現する



- 価値向上と投資リスクのバランスを見極めた上で、自社開発を実施する
- イオンチャネル創薬の疾患領域の拡大および関連する創薬技術の強化を進める
- 産学連携を含む戦略的な外部提携によって新たな技術・創薬シーズを獲得する





- 5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬およびモチリン受容体作動薬の導出活動の強化
- 自社開発によるステージアップと付加価値向上。選抜した1プログラムの臨床開発

次段階

5-HT₄部分作動薬
RQ-00000010 (RQ-10)

P2試験

5-HT_{2B}拮抗薬
RQ-00310941 (RQ-941)

P2試験

モチリン受容体作動薬
RQ-00201894 (RQ-894)

P1試験

グレリン受容体作動薬
RQ-00433412 (RQ-412)

前臨床試験

1. 導出活動の強化

- 事業開発体制の整備
- 対象：RQ-10、RQ-941およびRQ-894
現有データでの導出を目指した集中的な活動

目標▶ 導出契約の締結

2. 自社開発による価値向上

- 開発体制の整備
- 適応疾患の再検討
 - ・臨床開発に進める重点プログラムの選抜

目標▶ 開発計画の策定

1. 自社開発による価値向上

- 前臨床試験の実施

目標▶ RQ-412の前臨床試験完了

目標

次段階の治験申請（1プログラム）



探索研究段階の プログラム数

(標的選択段階のプログラムを除く)

9

探索研究パイプラインの維持・拡大を図り、
2023年までに新たに2つの開発候補化合物の創出を目指す

探索研究段階にあるプログラム概要

企業

2

アカデミア

3

単独研究

4

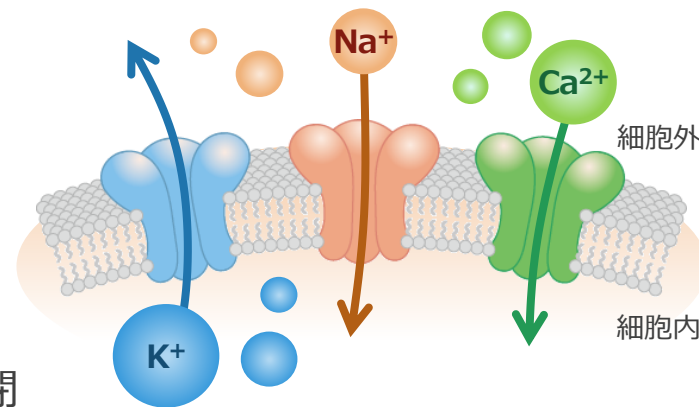
(非開示)

	共同研究相手	疾患	標的分子
企業	あすか製薬	非開示	特定のイオンチャネル
	インタープロテイン	疼痛	非開示
アカデミア	名古屋大学	心不全	CRHR2
	長崎大学	新型コロナウイルス感染症	非開示
	岐阜薬科大学	網膜静脈閉塞症	非開示



イオンチャネルとは

- 細胞の内外へイオンを通過させる膜タンパク質
- 細胞機能の維持に必須であらゆる細胞に発現
- 種類によって通過できるイオンが決まっている
- 膜電位の変化、リガンド結合、機械刺激等で開閉



さまざまな生理現象にイオンチャネルが深く関与

神経のシグナル伝達	----->	認知・記憶・五感	----->	精神・神経疾患
心筋の収縮	----->	不整脈等	----->	循環器疾患
骨格筋の収縮	----->	四肢麻痺、筋委縮等	----->	筋疾患
ホルモンの分泌	----->	血糖、利尿作用等	----->	代謝性疾患・泌尿器疾患等

イオンチャネルの制御により幅広い疾患を治療できる可能性

創薬の難易度が高く、参入する企業の少ない創薬領域



これまでに開発候補化合物 4 件の創出に成功、うち3件は提携先企業が現在開発中

プログラム名	概要
P2X7受容体拮抗薬	化合物コード：RQ-00466479/AK1780 旭化成ファーマ株式会社に導出 Eli Lilly社（米国）がグローバル開発を実施中
選択的ナトリウムチャネル遮断薬	化合物コード：非開示 主適応症：鎮痛・鎮痒 マルホ株式会社にて開発中
特定のイオンチャネル	化合物コード：非開示 主適応症：特定の消化器疾患 EAファーマ株式会社にて開発中
TRPM8遮断薬	化合物コード：RQ-00434739 神経障害性疼痛（化学療法起因性冷アロディニア） 前臨床試験準備中



創薬標的
分子の探索

評価系の
構築

リード化合物
創出

リード化合物
最適化

開発候補
化合物の決定



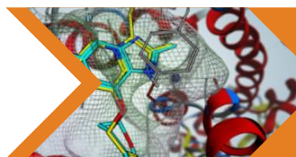
充実したイオンチャネル評価系

各種イオンチャネル発現細胞の蓄積
上記細胞を用いたハイスループットスクリーニング(HTS)を常に実施可能な体制



難易度が高い評価にも対応可能な優れた電気生理評価力

経験が豊富なプロの電気生理研究者
ラクオリアにしかできない電気生理評価で共同研究を獲得



卓越した化合物デザイン・合成力

イオンチャネル創薬で磨き上げた化合物デザイン力
精製工程を集約させ合成期間を短縮化

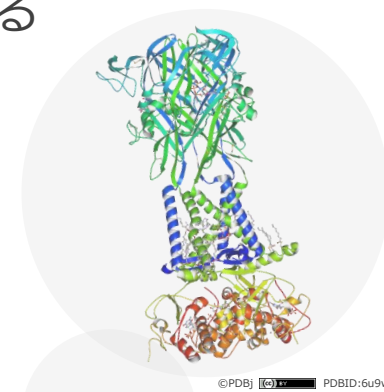


新たな疾患領域への進出

- 神経疾患等の新たな重点疾患領域の選定を実施中
- 2022年からは重点疾患での探索プログラムを充実させる

構造生物学的アプローチの活用

- イオンチャネルの立体構造解析を強化
- 取得した構造情報を化合物デザインに活用する



電気生理評価技術のさらなる強化

- HTSオートパッチクランプシステムの導入
- iPS神経細胞や組織を用いた評価系の充実
 - ・ 細胞・動物からヒトへのトランスレーション
 - ・ 患者病態から細胞モデルへのリバーストランスレーション



全ての取り組みにAIとインフォマティクスを活用する



ラクオリアの技術

- ・ イオンチャネル創薬
- ・ 電気生理評価技術
- ・ 化合物デザインカ



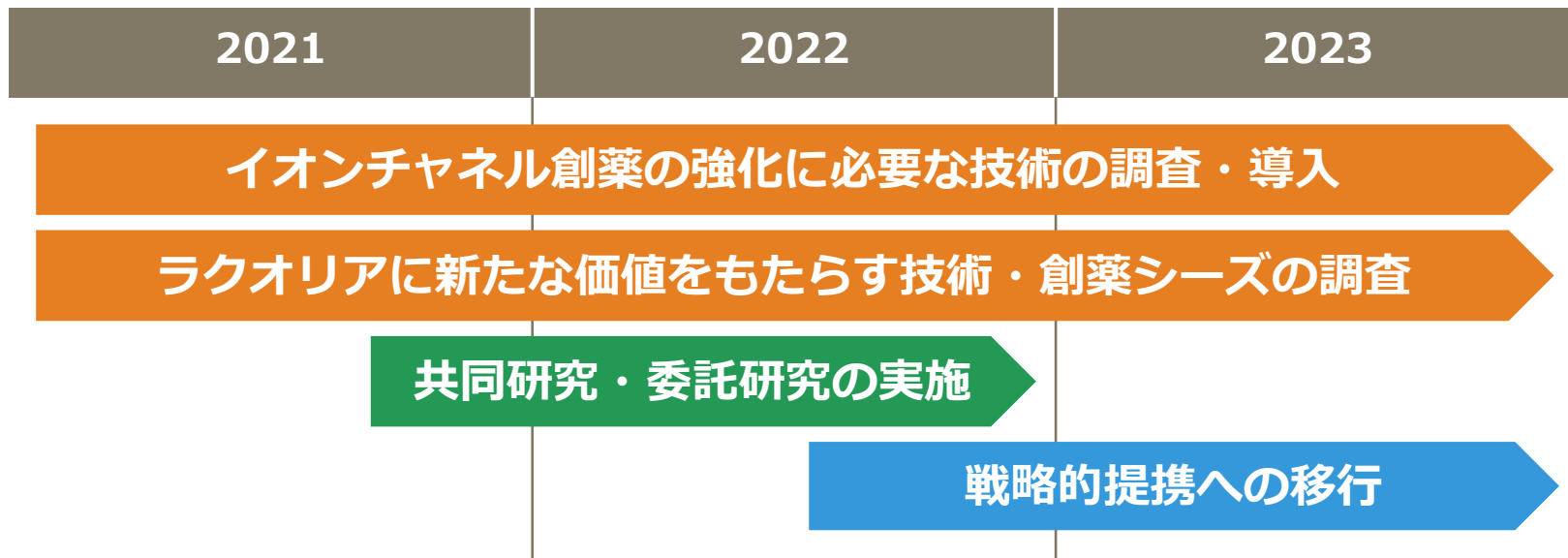
提携先の技術

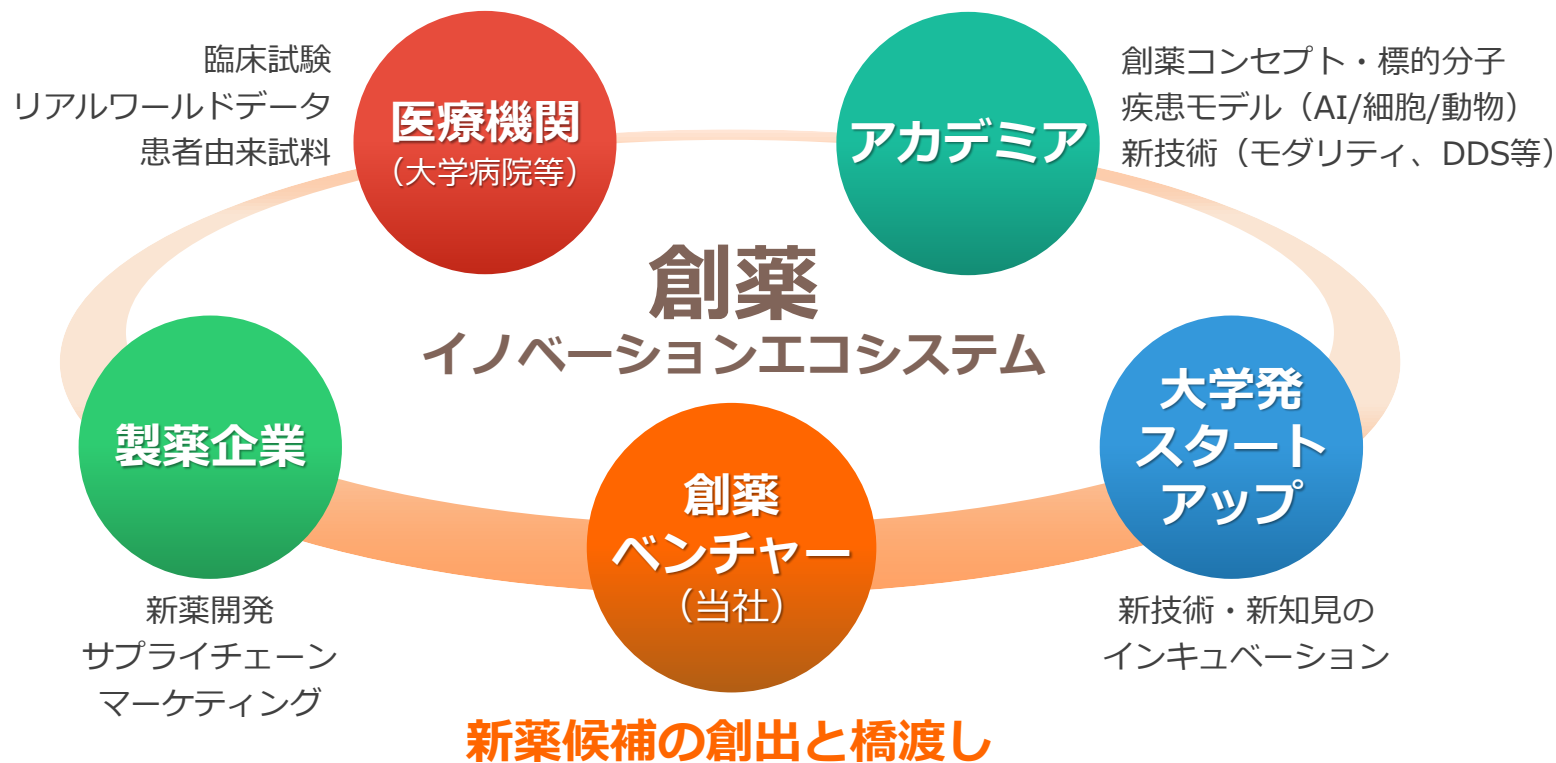
- ・ インフォマティクス
- ・ 構造解析
- ・ 疾患特異的技術
- ・ モダリティ



創薬力の向上

- ・ 成功確率の向上
- ・ 新たな重点疾患領域
- ・ イオンチャネル以外の標的分子クラス
- ・ 新モダリティ
- ・ 新プラットフォーム





わが国および中部圏における創薬イノベーションエコシステムの一員として創薬技術の開発、新薬候補の創出と橋渡しに焦点を当てた取り組みを継続する

- アカデミア発創薬シーズを活用した創薬研究 (標的分子、疾患モデル、試験法、その他新技術)
- 臨床研究中核病院における臨床試験の実施 (タミバロテン)



- ◆ 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。

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