

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 谷 直 樹  
 (コード番号：4579)  
 問 合 せ 先 取締役専務執行役員 河田 喜一郎  
 (TEL. 052-446-6100)

### 中期経営計画の修正に関するお知らせ

当社は、2019年9月6日に公表した「Meiji Seika ファルマ株式会社によって実施された日本の統合失調症患者を対象としたziprasidoneの第Ⅲ相臨床試験の速報結果について」及び「通期業績予想の修正に関するお知らせ」に加え、最近の業績動向等を踏まえ、2019年2月8日に公表した2019年12月期～2021年12月期新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 (2019年度通期業績予想)

【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 (△)
2018年度通期 (実績)	744	1,819	△1,075	△1,064	△1,104
2019年度通期 (計画)	<u>1,756</u>	<u>1,840</u>	<u>△84</u>	<u>△82</u>	<u>△106</u>
2020年度通期 (目標)	<u>2,129</u>	<u>1,892</u>	<u>237</u>	<u>245</u>	<u>174</u>
2021年度通期 (目標)	<u>2,240</u>	<u>2,011</u>	<u>229</u>	<u>237</u>	<u>161</u>

【見直前】(2019年2月8日公表)

(百万円)

	事業収益	事業費用	営業損失 (△)	経常損失 (△)	親会社株主に帰属する当期純利益 (△)
2018年度通期 (実績)	744	1,819	△1,075	△1,064	△1,104
2019年度通期 (計画)	<u>2,022</u>	<u>1,834</u>	<u>187</u>	<u>195</u>	<u>153</u>
2020年度通期 (目標)	<u>2,100</u>	<u>1,884</u>	<u>215</u>	<u>232</u>	<u>153</u>
2021年度通期 (目標)	<u>2,200</u>	<u>1,904</u>	<u>295</u>	<u>303</u>	<u>214</u>

#### 2. 修正の理由

当社は、2019年9月6日に公表いたしました『通期連結業績予想の修正に関するお知らせ』及び最近の業績動向等について検討した結果、2019年2月8日に公表しました『2019年12月期～2021年12月期新中期経営計画 (Gaia 2021)』の修正を行うことといたしました。

主な増減要因は、Meiji Seika ファルマ株式会社が実施した統合失調症治療薬ziprasidoneの第Ⅲ相臨床試験の速報結果を受け、ziprasidone関連の収益見通しを全て除外したことによるものであります。なお、今後のMeiji Seika ファルマ株式会社の開発戦略の見直しを受けて、ziprasidoneの収益見通しを再度織り込む可能性があります。

※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。

以上の結果、2019年12月期の業績予想を事業収益1,756百万円（前回発表予想値2,022百万円）、事業費用1,840百万円（前回発表予想値1,834百万円）、営業損失84百万円（前回発表予想値187百万円）、経常損失82百万円（前回発表予想値195百万円）、親会社株主に帰属する当期純損失106百万円（前回発表予想値153百万円）に修正いたします。

2020年12月期については、事業収益2,129百万円（前回発表予想値2,100百万円）、事業費用1,892百万円（前回発表予想値1,884百万円）、営業利益237百万円（前回発表予想値215百万円）、経常利益245百万円（前回発表予想値232百万円）、当期純利益174百万円（前回発表予想値153百万円）、2021年12月期については、事業収益2,240百万円（前回発表予想値2,200百万円）、事業費用2,011百万円（前回発表予想値1,904百万円）、営業利益229百万円（前回発表予想値295百万円）、経常利益237百万円（前回発表予想値303百万円）、親会社株主に帰属する当期純利益161百万円（前回発表予想値214百万円）に改めます。

※修正箇所は、次ページ以降をご参照下さい。

※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。

## (修正箇所一覧表)

修正箇所	修正前	修正後
会社概要 (P3)	従業員 (連結) : 66名 資本金 : 27億9,345万円 発行株式総数 : 20,388,389株 (※図) 創薬研究部門 (生物研究部) 創薬研究部門 (化学研究部)	従業員 (連結) : 67名 資本金 : 20億8,505万円 発行株式総数 : 20,669,162株 (※図) 創薬研究部門 (環境医学研究所) (高等総合研究館) (NIC)
ラクオリア創薬の歩みと今後の成長 (P4)	(※図) 「2019年-」 「ヒト用医薬品発売予定」	(※図) 「2019年」 「ヒト用医薬品販売開始」 「K-CAB®」図追加
2019年12月期 主なイベント (P9)	-tegoprazanの状況 : 2019年に販売開始予定 -GALLIPRANT®の状況 : 2019年前半に欧州で販売開始見込み	-tegoprazanの状況 : 2019年3月に販売を開始 -GALLIPRANT®の状況 : 2019年3月欧州で販売を開始
2019年12月期 主なイベント (P10)	-ジプラシドンの状況 : 日本のフェーズ3試験を実施中。2019年内に承認申請へ	-ジプラシドンの状況 : 日本のフェーズ3試験を実施。本試験で得られた結果を詳細に解析・評価し、今後の開発計画および開発戦略を検討する予定
実績と今後の業績目標 (概要) (P12)	2019年12月期 (計画) 事業収益 2,022 営業利益 187 経常利益 195 親会社株主に帰属する当期純利益153  2020年12月期 (計画) 事業収益 2,100 営業利益 215 経常利益 232 親会社株主に帰属する当期純利益153  2021年12月期 (計画) 事業収益 2,200 営業利益 295 経常利益 303 親会社株主に帰属する当期純利益214  (※図) GALLIPRANT® : 欧州 (19年発売予定) K-CAB® : 韓国 (19年発売予定)	2019年12月期 (計画) 事業収益 1,756 営業利益 △84 経常利益 △82 親会社株主に帰属する当期純利益△106  2020年12月期 (計画) 事業収益 2,129 営業利益 237 経常利益 245 親会社株主に帰属する当期純利益174  2021年12月期 (計画) 事業収益 2,240 営業利益 229 経常利益 237 親会社株主に帰属する当期純利益161  (※図) GALLIPRANT® : 欧州 (販売中) K-CAB® : 韓国 (販売中)
費用の概要 (P13)	2019年12月期 (計画) ① 事業原価 283	2019年12月期 (計画) ① 事業原価 272

※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。

修正箇所	修正前	修正後
	② 事業費用 <u>1,551</u> (内) 人件費 <u>603</u> (内) 研究開発費 <u>297</u> (内) 管理統制費 <u>264</u> (内) 施設関連費 <u>230</u> (内) その他 <u>157</u> 合計 (①+②) <u>1,834</u>  2020年12月期 (計画) ① 事業原価 <u>239</u> ② 事業費用 <u>1,644</u> (内) 人件費 <u>605</u> (内) 研究開発費 <u>351</u> (内) 管理統制費 <u>253</u> (内) 施設関連費 <u>223</u> (内) その他 <u>212</u> 合計 (①+②) <u>1,884</u>  2021年12月期 (計画) ① 事業原価 <u>312</u> ② 事業費用 <u>1,592</u> (内) 人件費 <u>608</u> (内) 研究開発費 <u>353</u> (内) 管理統制費 <u>231</u> (内) 施設関連費 <u>210</u> (内) その他 <u>190</u> 合計 (①+②) <u>1,904</u>	② 事業費用 <u>1,568</u> (内) 人件費 <u>625</u> (内) 研究開発費 <u>267</u> (内) 管理統制費 <u>273</u> (内) 施設関連費 <u>235</u> (内) その他 <u>168</u> 合計 (①+②) <u>1,840</u>  2020年12月期 (計画) ① 事業原価 <u>247</u> ② 事業費用 <u>1,644</u> (内) 人件費 <u>604</u> (内) 研究開発費 <u>351</u> (内) 管理統制費 <u>254</u> (内) 施設関連費 <u>223</u> (内) その他 <u>212</u> 合計 (①+②) <u>1,892</u>  2021年12月期 (計画) ① 事業原価 <u>327</u> ② 事業費用 <u>1,683</u> (内) 人件費 <u>671</u> (内) 研究開発費 <u>350</u> (内) 管理統制費 <u>255</u> (内) 施設関連費 <u>225</u> (内) その他 <u>182</u> 合計 (①+②) <u>2,011</u>
人員計画 (P14)	(※図) 2019年12月期 総数：「 <u>68人</u> 」 研究開発部門：「 <u>48人</u> 」	(※図) 2019年12月期 総数：「 <u>67人</u> 」 研究開発部門：「 <u>49人</u> 」
主な導出済みプログラムの状況 (P23)	(※表内) カリウムイオン競合型アシッドブロッカ ー (P-CAB) RQ-00000004 (tegoprazan) 胃食道逆流症 韓国：「 <u>承認</u> 」	(※表内) カリウムイオン競合型アシッドブロッカ ー (P-CAB) RQ-00000004 (tegoprazan) 胃食道逆流症 韓国：「 <u>販売</u> 」 「 <u>中南米</u> 」欄を新設 (サブライセンス契約締結)

※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。

修正箇所	修正前	修正後
導出済みプログラム一覧(P24)	(※表内) EP4拮抗薬 grapiprant RQ-00000007 変形性関節症 中国「フェーズ1準備」  EP4拮抗薬 grapiprant RQ-00000007 自己免疫疾患 アレルギー、がん 中国「フェーズ1準備」	(※表内) EP4拮抗薬 grapiprant RQ-00000007 変形性関節症 中国「フェーズ1実施」  EP4拮抗薬 grapiprant RQ-00000007 自己免疫疾患 アレルギー、がん 中国「フェーズ1実施」
導出済みプログラム 世界5カ国9社13件のライセンス契約(P25)	(※図) カリウムイオン競合型アシッドブロッカー： <u>(韓国：2019年販売開始予定)</u>  EP4拮抗薬： <u>(米国：販売中)</u>	(※図) カリウムイオン競合型アシッドブロッカー： <u>(韓国：2019年販売開始)</u>  EP4拮抗薬： <u>(米国、欧州：販売中)</u>
『tegoprazan』の開発ロードマップ(P26)	(※図) 「韓」「FY2019」： <u>販売開始(19年～)</u>  -開発状況： <u>2019年販売開始予定</u>	(※図) 「韓」「FY2019」： <u>販売開始(19年3月)</u> 追加： <u>「ベトナム」「承認申請準備中」</u> -開発状況： <u>2019年3月販売開始</u>
『tegoprazan』の開発状況(サブライセンス先の状況含む)(P27)		<u>説明図を最新の状況に更新</u> <u>-韓国：販売開始</u> <u>-中南米を追加</u>
ジブラシドンの開発ロードマップ(P28)		P28を削除
主なパイプラインの状況：動物薬(P29) P28	GALLIPRANT®： <u>2019年前半に欧州で同剤を発売する見込みです。</u>  (※図) EP4拮抗薬 GALLIPRANT® RQ-00000007 ( grapiprant ) Aratana Therapeutics, Inc. 変形性関節症(欧) <u>「承認」：製造販売承認取得(2018年1月：欧)</u>	GALLIPRANT®： <u>2019年3月に欧州で同剤の発売を開始しました。</u>  (※図) EP4拮抗薬 GALLIPRANT® RQ-00000007 ( grapiprant ) Aratana Therapeutics, Inc. 変形性関節症(欧) <u>「販売」：販売開始(2019年3月：欧)</u>
動物薬の開発ロードマップ(P30) P29	スライドタイトルを変更 従来： <u>ペット用医薬品の開発ロードマップ</u>  (※図) GALLIPRANT®： <u>「FY2019」</u> <u>「欧」販売開始(19年～)</u>	今回： <u>動物薬の開発ロードマップ</u>  (※図) GALLIPRANT®： <u>「FY2019」</u> <u>「欧」販売開始(19年3月)</u> <u>「ロイヤルティ(販売中)」</u>

※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。

修正箇所	修正前	修正後
EP4 拮抗薬： GALLIPRANT®/gr apiprant/RQ-00 000007 (P31) P30	開発状況：「欧州」：2019年前半に販売開 始見込み  導出状況：AratanaはEli Lilly and Companyから分離・独立したElancoとの間 で戦略的提携を締結	開発状況：「欧州」：2019年3月に販売を 開始  導出状況：AratanaはEli Lilly and Companyから分離・独立したElancoとの間 で戦略的提携を締結、2019年7月、Elanco がAratanaを買収
グレリン受容体 作動薬： ENTYCE®/caprom orelin/RQ-0000 005 (P32) P31	導出状況：・Aratanaに動物薬としての全 世界の権利を導出済み	導出状況：・Aratanaに動物薬としての全 世界の権利を導出済み  ・2019年7月、ElancoがAratanaを買収
特許関連ニュー ス (P34) P33		(※図表) 上から ・「2019年8月6日/カリウムイオン競合 型アシッドブロッカー (P-CAB) に関する 新規用途/欧州/用途特許」 ・「2019年7月23日/Nav1.7およびNav1.8 ナトリウム遮断薬 (アミド誘導体) /日本 /物質特許」 ・「2019年4月9日/グレリン受容体作動 薬 (セリン誘導体) /韓国/物質特許」 以上3項目を追加
産学連携の状況 (P37) P36	(※図表) ・「脂肪由来幹細胞のサイトカインや成長 因子の分泌を誘導する低分子化合物の探 索」 (2015年8月) ・「神経再生を指向した特定の酵素選択的 阻害剤の探索」 (2018年7月) ・「緑内障治療薬の検証」 (2018年10月)	(図表) ・「脂肪由来・・・」削除  ・「神経再生・・・」削除  ・「網膜静脈閉塞症 (RVO) 治療薬の探索」 (2019年5月)に変更 ・「筋委縮性側索硬化症 (ALS) の新規治 療薬の創出に向けた初期探索研究」 (2019 年7月)を追加
ラクオリア イ ノベーションズ 株式会社：本格 稼働へ (P40) P39	-・本年4月に新会社ホームページ公開予 定	2019年4月に新会社ホームページ公開
P29～42		以降、1ページずつ繰り上げ

※修正後の「2019年12月期～2021年12月期新中期経営計画 (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。

※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。

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。



# 2019～2021年12月期 新中期経営計画(修正) (Gaia 2021)

前回公表:2019年2月8日

今回公表:2019年9月6日 (東証ジャスダック グロース:4579)

RaQualia Pharma Inc.

Copyright© 2019 RaQualia Pharma Inc. All Rights Reserved



## 目次

会社概要・当社の歩み・ビジネスモデル

2016年度～2018年度中計「Odyssey2018」のふりかえり

新中期経営計画「Gaia2021」の概要、数値目標

当社の強みと魅力(創薬力、イオンチャネル創薬、知財戦略)

主要プログラムの状況

導出準備プログラムの状況、特許関連ニュース

産学官連携

子会社の状況

# 会社概要

(提出日現在)

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

## 社名

ラクオリア創薬株式会社

## 代表取締役

谷 直樹

## 事業内容

医薬品の研究開発、医薬品及び臨床開発候補品に関わる基盤技術の知的財産の販売及び使用許諾

## 従業員(連結)

67名

## 設立

2008年2月19日

## 資本金

20億9,050万円

## 発行株式総数

20,678,142株

## 連結子会社

テムリック株式会社  
ラクオリア イノベーションズ株式会社

本社



名古屋駅  
名古屋大学

創薬研究部門



(高等総合研究館)



(環境医学研究所)



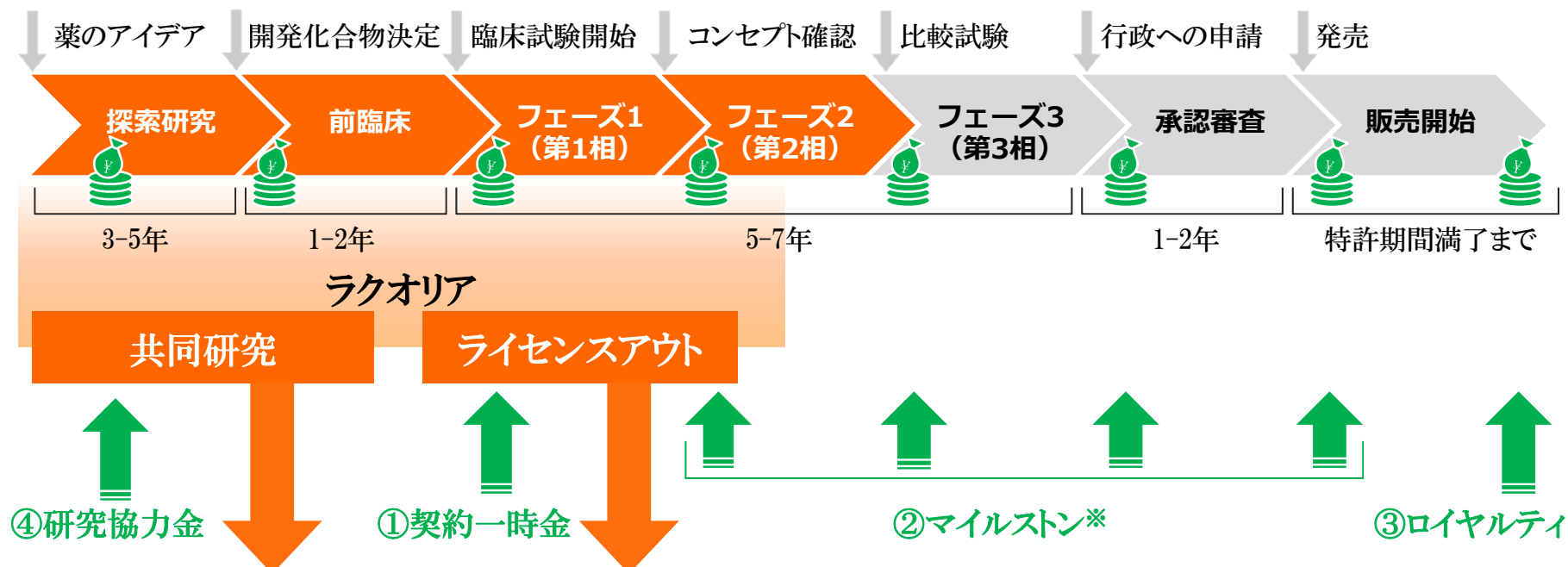
(NIC)

# ラクオリア創薬の歩みと今後の成長



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

# ラクオリア創薬の事業領域とビジネスモデル



## ビジネスモデル

独自に創出した新薬の種(開発化合物)を製薬会社等に導出(ライセンスアウト)することで、①契約一時金収入、②マイルストーン収入、③ロイヤルティ収入の獲得を目指す。また、探索段階からの共同研究により④研究協力金収入を得る。

※「②マイルストーン」の収益タイミングはあくまで一例であり、実際には各企業との契約条件によって異なります。

## 2016年度～2018年度 中期経営計画『Odyssey 2018』のふりかえり

### ■ ペット医薬品を米国で上市、欧州でも承認取得、近日上市へ

- 導出先Aratana Therapeutics, Inc.(米国:以下「Aratana」)がイヌの変形性関節症に伴う痛みと炎症の治療薬「GALLIPRANT®」の米国での販売を開始【2017年1月】
- Aratanaがイヌの食欲促進薬「ENTYCE®」の米国での販売を開始【2017年10月】
- Aratanaがイヌの変形性関節症に伴う痛みの治療薬「GALLIPRANT®」の欧州における販売承認を取得【2018年1月】

### ■ ヒト用医薬品の上市が視野に

- 導出先のCJ HealthCare Corporation(韓国:以下「CJ」)が胃食道逆流症治療薬「tegoprazan」を韓国食品医薬品安全処(MFDS:Ministry of Food and Drug Safety)に承認申請【2017年8月】
- CJが胃食道逆流症治療薬「tegoprazan = 商品名『K-CAB®』」の韓国における承認を取得【2018年7月】
- CJの提携先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group(中国)が胃食道逆流症治療薬「tegoprazan」の中国におけるフェーズ3試験を開始【2018年10月】

### ■ 創薬研究にシフト、産学連携を積極的に推進

- 5-HT<sub>4</sub>部分作動薬(RQ-0000010)/5-HT<sub>2B</sub>拮抗薬(RQ-00310941)の英国での自社フェーズ1試験を終了
- イオンチャネル創薬での協業が進展。マルホ株式会社(日本)、旭化成ファーマ株式会社(日本)に導出。EAファーマ株式会社(日本:※旧味の素製薬)と共同で創出した化合物も順調に開発中
- 名古屋大学内に「ラクオリア創薬産学協同研究センター」を設置、産学連携に注力【2018年4月】

### ■ 子会社関連

- テムリック株式会社を完全子会社化【2017年2月】「TM-411」の急性骨髄性白血病(AML)フェーズ2試験(多剤併用)の初期データの結果は良好【2018年12月】
- ラクオリア イノベーションズ株式会社を設立【2018年12月】アカデミアやスタートアップ企業が生み出す「新薬の種」「事業の種」の事業化を国内外で模索へ

## 2018年12月期 事業ハイライト

### ■ 事業収益は当初計画(13億8800万円)を下方修正、7億4300万円を計上

- ZTE Coming Biotech Co., Ltd.(中国)との間で進めていた合弁会社の設立を中止、合意解約
- 複数のマイルストーン収入が翌期以降にずれ込む
- 2018年12月期通期の営業損失は10億7,500万円

### ■ ペット用医薬品の米国販売動向は順調

- イヌの変形性関節症に伴う痛みの治療薬「GALLIPRANT®」の米国販売が順調に推移、ロイヤルティ収入を計上
- イヌの食欲促進薬「ENTYCE®」も米国で着実な歩み

### ■ パートナー企業との共同研究で具体的な成果、名古屋大学との特許共同出願

- 旭化成ファーマとの共同研究から創出されたP2X7受容体拮抗薬(RQ-00466479 / AKP-23494954)がマイルストーンを達成、前臨床試験段階に移行。新たにライセンス契約を締結
- 消化器領域の特定のイオンチャネルを標的としたEAファーマとの共同研究から創出された化合物がマイルストーンを達成、マイルストーン収入を計上
- マルホに導出した選択的ナトリウムチャネル遮断薬の開発も順調
- 名古屋大学と心不全治療薬に関する共同特許を出願

## 2018年12月期 事業ハイライト

### ■ ヒト用医薬品の上市に向け着実に進展

- 導出先のCJが、胃食道逆流症治療薬「tegoprazan = 商品名『K-CAB®』」の韓国における承認を取得
- CJの提携先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group(中国)が、胃食道逆流症治療薬「tegoprazan」の中国におけるフェーズ3試験を開始
- 導出先のMeiji Seika ファルマが、日本でジプラシドン(セロトニン5-HT<sub>2A</sub>およびドパミンD<sub>2</sub>受容体拮抗薬)のフェーズ3試験を実施中

### ■ 産学連携

- 共同研究先のヴァージニア・コモンウェルス大学において、マイケル・J・フォックス財団から助成金を受けた5-HT<sub>4</sub>部分作動薬(RQ-0000010)の医師主導試験が進行中
- 名古屋大学と新規心不全治療薬や非アルコール性脂肪肝炎(NASH)治療薬に関する共同研究等は順調に推移
- 岐阜薬科大学と緑内障治療薬の検討を開始

### ■ その他

- テムリックの「TM-411」の急性骨髄性白血病(AML)フェーズ2試験(多剤併用)の初期データの結果は良好
- 新会社ラクオリア イノベーションズを設立、「新たなプラット・フォーム」の創造に向けアカデミアやスタートアップ企業などと連携へ
- 継続的な知的財産の強化:4件の新規特許取得を発表



## 2019年12月期 主なイベント

### ■ ヒト用医薬品が韓国で発売、CJの提携戦略が本格化

- 「tegoprazan」(カリウムイオン競合型アシッドブロッカー/RQ-00000004)は、CJが韓国で2018年7月に承認を取得。2019年3月に販売を開始
- CJが東アジア、東南アジア、ROW(Rest Of World)でサブライセンス先を開拓、締結へ

### ■ ペット用医薬品は成長期へ

- GALLIPRANT®(grapiprant/RQ-00000007)の米国販売は順調に拡大。2019年3月に欧州で販売を開始
- ENTYCE®(capromorelin/RQ-00000005)の米国販売は着実な歩み。米国ではネコでピボタル試験実施中



## 2019年12月期 主なイベント

### ■ 提携先での順調な臨床開発

- ジプラシドン(セロトニン5-HT<sub>2A</sub>およびドパミンD<sub>2</sub>受容体拮抗薬)は、Meiji Seika ファルマで、日本のフェーズ3試験を実施。本試験で得られた結果を詳細に解析・評価し、今後の開発計画および開発戦略を検討する予定
- P2X7受容体拮抗薬(RQ-00466479/ AKP-23494954)は、旭化成ファーマで、前臨床試験段階。さらなる進展に期待
- EAファーマとのイオンチャネルを標的とした共同研究から創出された化合物は、EAファーマで、継続して開発中
- 選択的ナトリウムチャネル遮断薬は、マルホで、継続して開発中

### ■ 子会社関連

- テムリックの提携先であるSyros Pharmaceuticals, Inc.(米国)が実施中の「TM-411」の急性骨髄性白血病(AML)フェーズ2試験(多剤併用)は順調、さらなる進展に期待
- ラクオリア イノベーションズは本格始動

### ■ その他

- イオンチャネル創薬のさらなる進展
- 継続的な知的財産の強化:ライフサイクルマネジメント(LCM)戦略

## 新中期経営計画「Gaia」の位置づけ

期間	名称	主な施策
2016年12月期～ 2018年12月期	「Odyssey」 (帰郷の旅)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ペット用医薬品2品上市</li> <li>• ヒト用医薬品の上市に向け着々と準備</li> </ul>
2019年12月期～ 2021年12月期	「Gaia」 (地母神、創造)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ヒト用医薬品上市</li> <li>• 海外展開加速</li> </ul>



ガイア(アラ・パチス博物館、ローマ)

### 「ギリシャ神話」

• まずはじめにカオス(混沌)が生じた。ついで、胸ひろき「**ガイア**」(大地)、オリュムポスの雪嶺に宮居する、すべての神々の永遠に揺るがぬ御座(みくら)となる**ガイア**(・・・が生まれた)【116-122行】

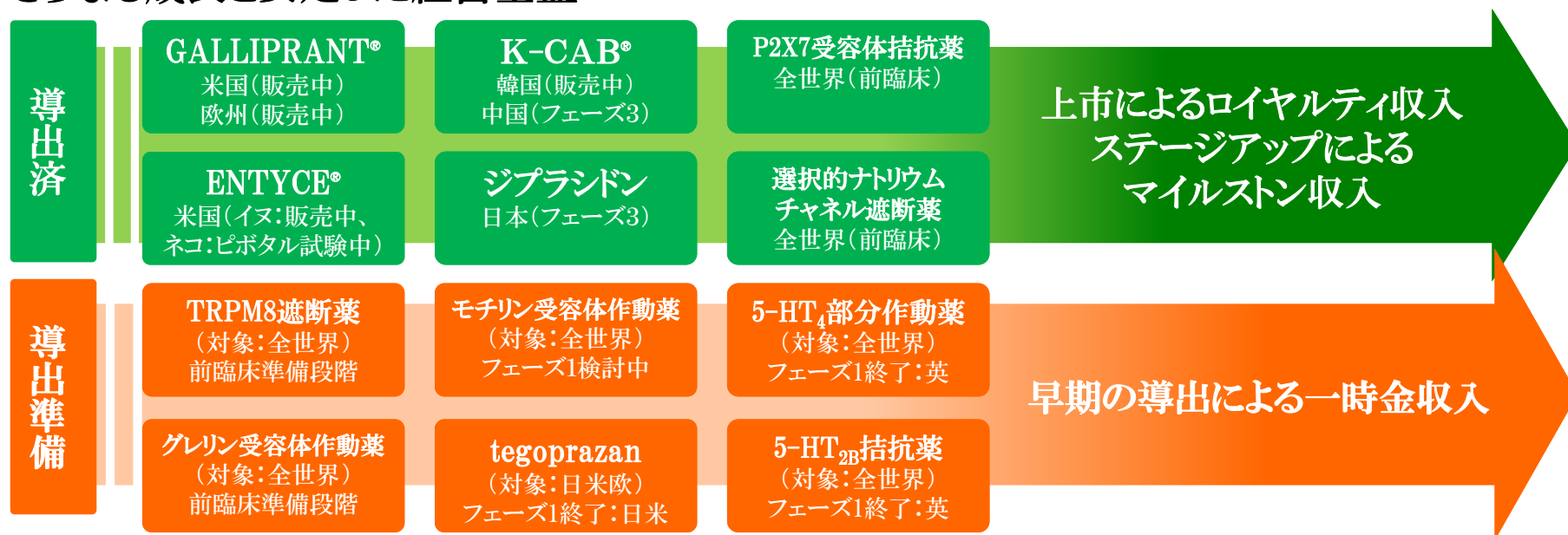
(ヘシオドス「神統記」(廣川洋一訳・岩波文庫))

地母神「ガイア」のような創造力で  
「グローバル」規模の進化を！

## 実績と今後の業績目標(概要)

【連結】 (単位;百万円)	2017年12月期 (実績※1)	2018年12月期 (当初計画)	2018年12月期 (実績)	2019年12月期 (計画)	2020年12月期 (目標)	2021年12月期 (目標)
事業収益	1,419	1,388	744	<u>1,756</u>	<u>2,129</u>	<u>2,240</u>
営業利益	△150	△698	△1,075	<u>△84</u>	<u>237</u>	<u>229</u>
経常利益	△80	△680	△1,064	<u>△82</u>	<u>245</u>	<u>237</u>
親会社株主に帰属する 当期純利益	△58	△686	△1,104	<u>△106</u>	<u>174</u>	<u>161</u>

### さらなる成長と安定した経営基盤へ



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 費用の概要

(単位;百万円)	2017年12月期 (実績)	2018年12月期 (当初計画)	2018年12月期 (実績)	2019年12月期 (計画)	2020年12月期 (目標)	2021年12月期 (目標)
①事業原価	149	150	89	<u>272</u>	<u>247</u>	<u>327</u>
②事業費用	1,420	1,936	1,730	<u>1,568</u>	<u>1,644</u>	<u>1,683</u>
(内)人件費	580	567	607	<u>625</u>	<u>604</u>	<u>671</u>
(内)研究開発費	296	628	451	<u>267</u>	<u>351</u>	<u>350</u>
(内)管理統制費	259	296	255	<u>273</u>	<u>254</u>	<u>255</u>
(内)施設関連費	164	181	204	<u>235</u>	<u>223</u>	<u>225</u>
(内)その他	119	151	213	<u>168</u>	<u>212</u>	<u>182</u>
合計(①+②)	1,569	1,968	1,819	<u>1,840</u>	<u>1,892</u>	<u>2,011</u>

2019年  
12月期

支払ロイヤルティ等:マイルストーン収入に伴うスポット的な費用及びロイヤルティ収入に伴う費用  
管理統制費:設備投資に伴う減価償却費等

2020年  
12月期

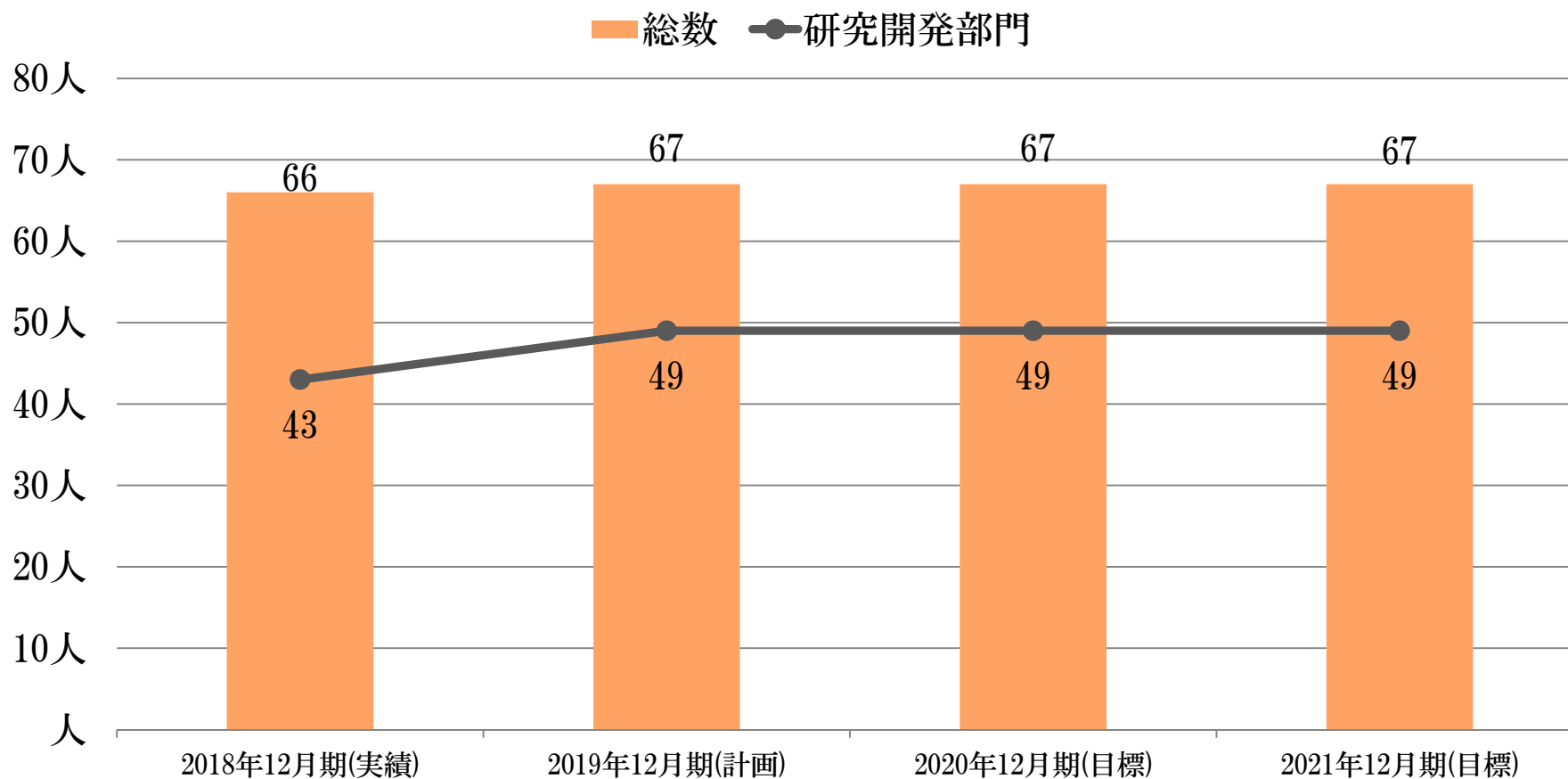
支払ロイヤルティ等:マイルストーン収入に伴うスポット的な費用発生及びロイヤルティ収入に伴う費用発生

2021年  
12月期

支払ロイヤルティ等:マイルストーン収入に伴うスポット的な費用発生及びロイヤルティ収入に伴う費用発生

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

# 人員計画



※. 当社連結、休職者含む

## 資金調達戦略

### ■基本方針

- 継続的な事業費用圧縮努力により、各年度の期末資金残高は30億円を維持
- 原則として、運転資金は事業収益からの資金収入と事業費用圧縮効果により調達
- 余剰資金は創薬加速化のため、探索研究費と既存プログラム価値向上のため、研究開発費用に充当し、早期収益化を目指す
- 市場から理解を得られる株主価値向上に根ざした/明確なEquity storyを持った資金調達戦略の提示と実行

### ■実績(現預金、投資有価証券等)

- 2018年度末の資金残高実績(約35億円)

### ■資金調達方法

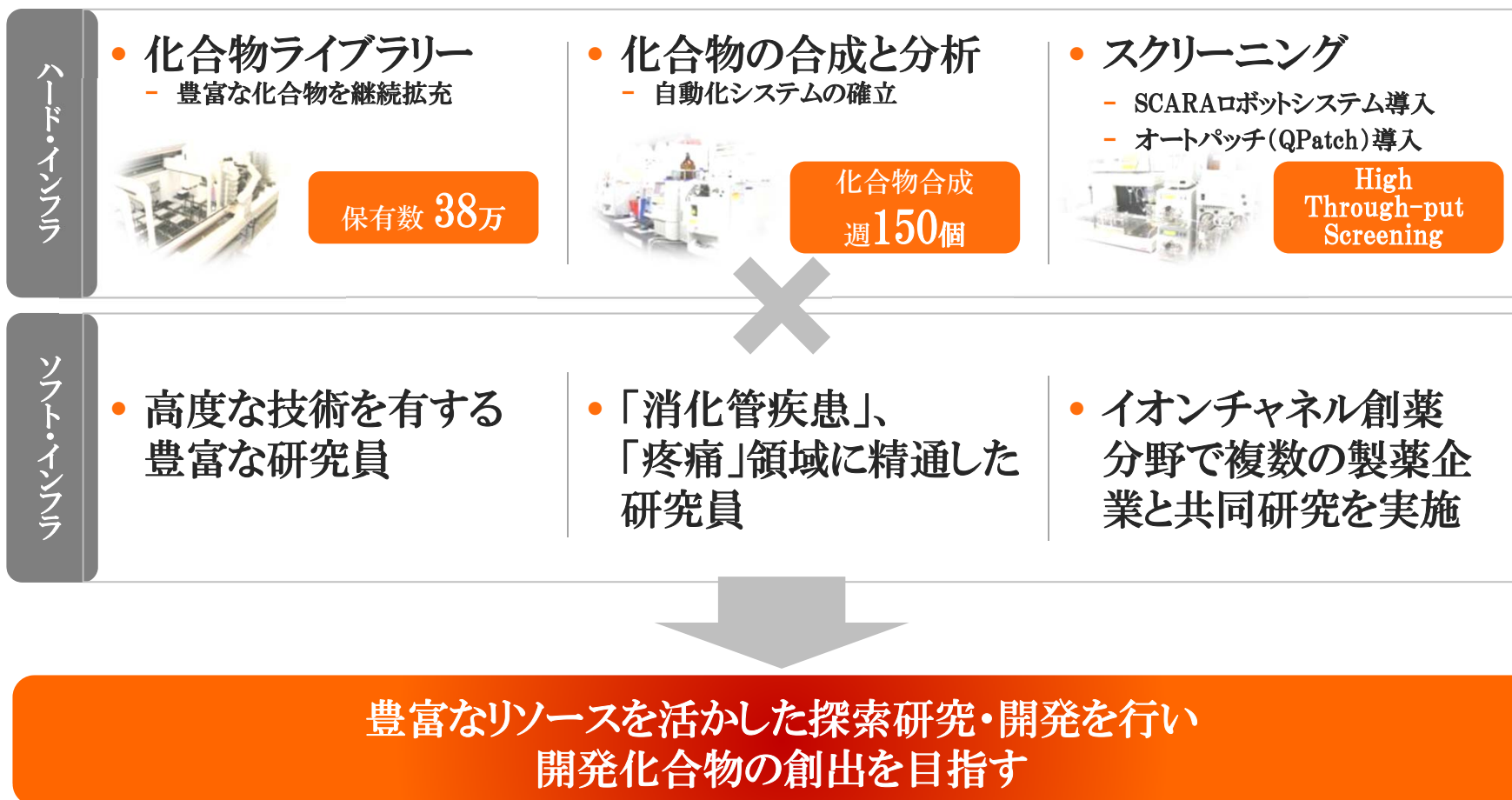
- 安定株主発掘のための第三者割当増資
- 公募増資
- 新たな資金調達手法の検討(プロジェクト毎のファイナンス等)
- 保有資産の有効利用(PETX株式の売却検討:残株式数:103,088株)
- Debtの検討

市場から理解を得られる株主価値向上に根ざした  
明確なEquity Storyを持った資金調達戦略の提示と実行

## 強みと魅力

## 創薬力

国内バイオベンチャートップクラスのインフラを最大限に活かし、開発化合物の創出を目指す





# イオンチャネル創薬(当社の優位性)

難易度が高く、他社が容易に模倣・後追いができない領域

## イオンチャネル創薬の課題

### 未解明の点が多い

比較的新しい研究領域であるため生理機能や病態への関与が未解明の点が多い

### 従来の手法が通用しない

天然のリガンドが存在しないため天然の生理活性物質が手がかかりとならない

### スクリーニングが困難

既存のHTS手法では間接的な観察に留まり、生きた細胞を測定する煩雑な測定系が必須

## 当社の優位性

大学・公的研究機関、製薬会社等との共同研究の実施

豊富な化合物ライブラリーと化合物の精製・分析の自動化システム確立

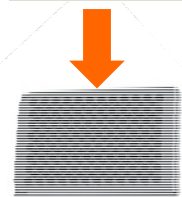
浜松ホトニクス社とイオンチャネル活性測定機器の共同開発



FDSS/μCELL  
(浜松ホトニクス)



96本の電極で、同時に96化合物の電位依存性イオンチャネル活性評価が可能

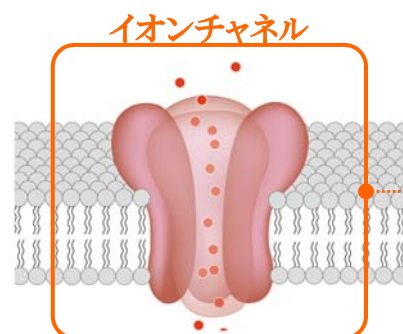
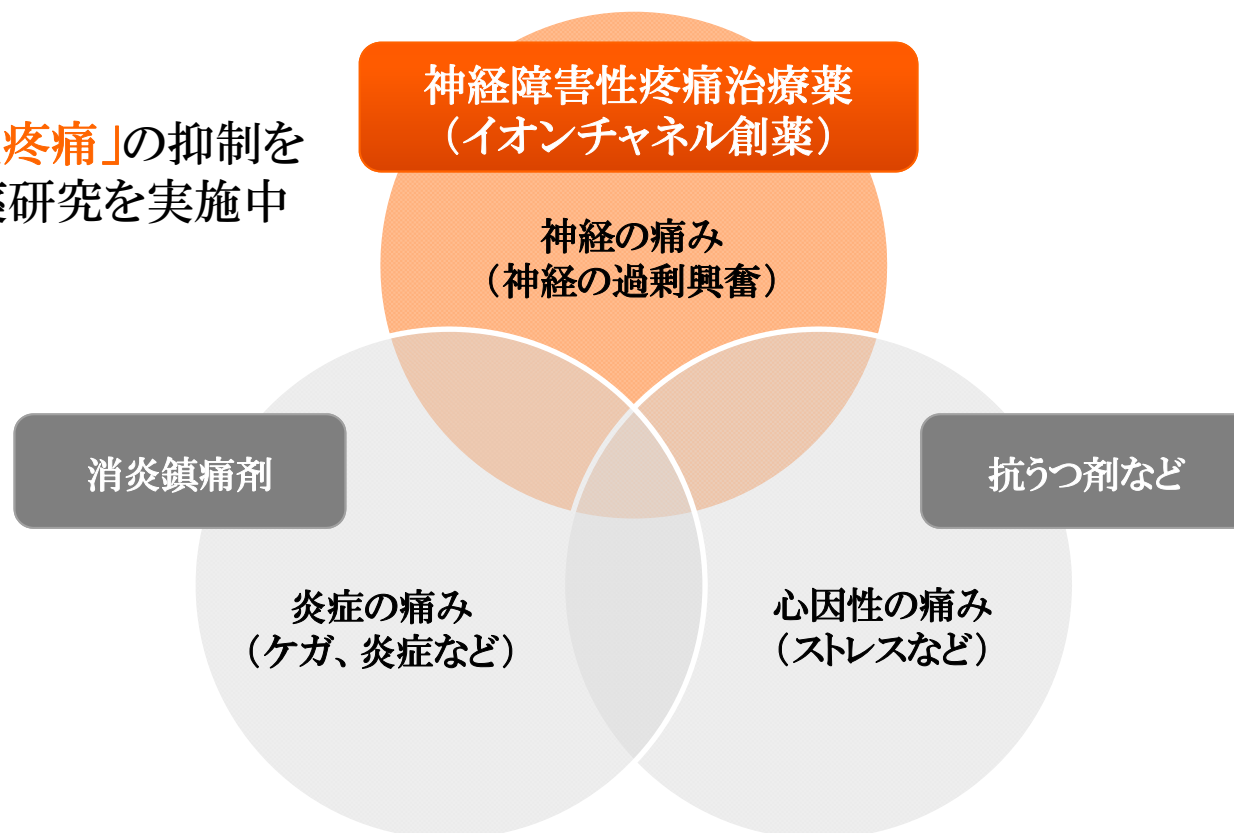


QPatch HTX  
(ソフィオン・バイオサイエンス)

オートパッチシステム  
HTSが可能(7000 データポイント/日)  
ギガシール可能

## イオンチャネル創薬(神経障害性疼痛)

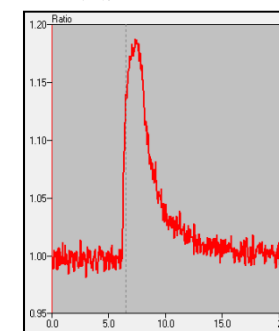
痛みの中でも  
「**神経障害性疼痛**」の抑制を  
目指した創薬研究を実施中



**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の総称。  
知覚神経や運動神経における情報の伝達や様々な組織で  
神経伝達物質の放出を調節する重要な役目を担っている

蛍光シグナル



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

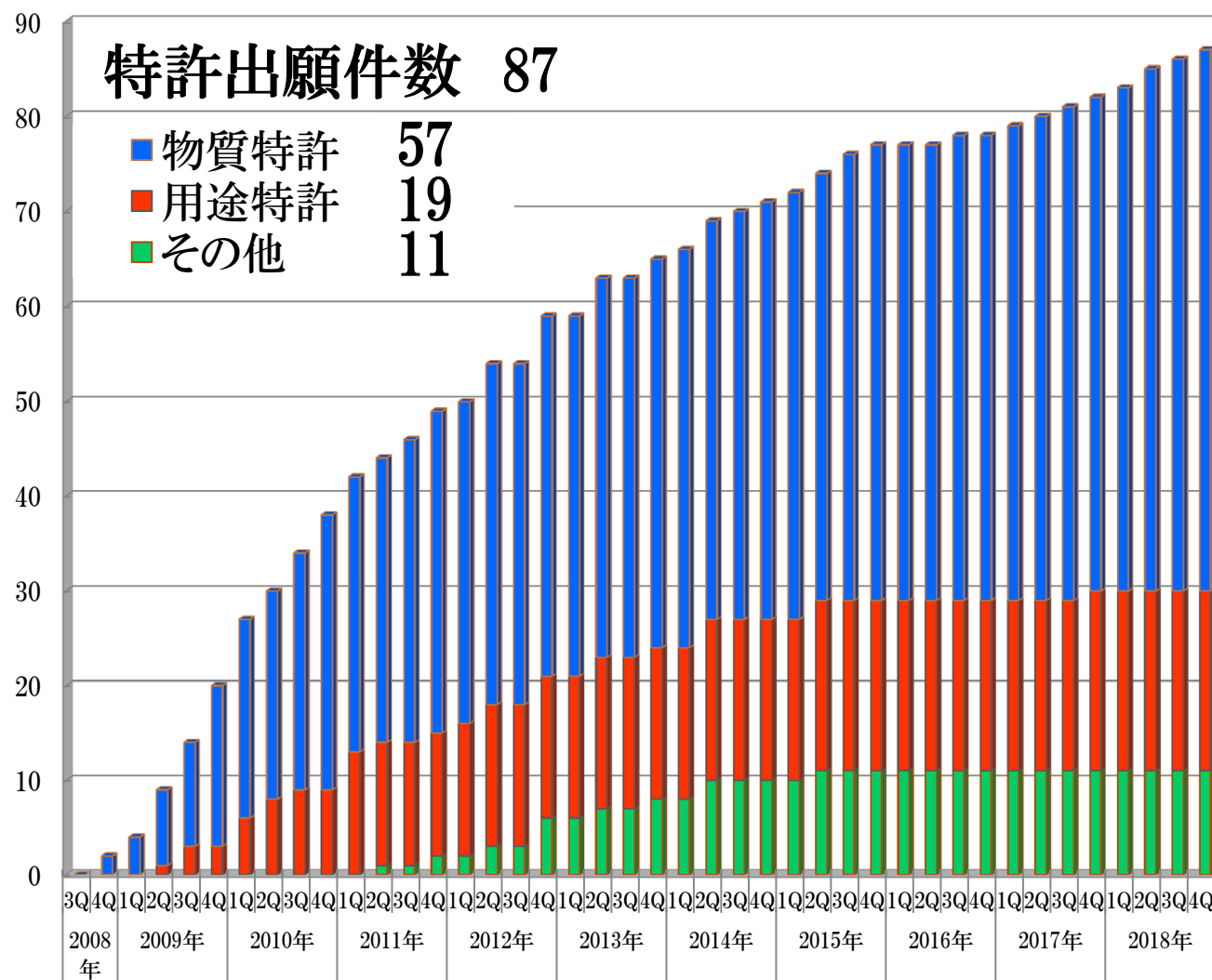
## 知的財産戦略

知的財産は当社の商品そのもの  
 — 価値の高い知的財産ポートフォリオの構築



# 特許出願状況

(各国移行件数を除く)



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 主要プログラムの状況

## 主な導出済みプログラム

(提出日現在)

プロジェクト	化合物 (一般名)	主適応症	対象地域	探索	前臨床	臨床試験			承認申請	承認	発売	
						フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3				
カリウムイオン競合型 アシッドブロッカー (P- CAB)	RQ-00000004 (tegoprazan)	胃食道逆流症	韓国	○	○	○	○	○	○	○	○販売	
			中国	○	○	○	○	○実施中				
			ベトナム							○準備中		
			中南米							○準備中		
ジプラシドン	RQ-00000003 (ziprasidone)	統合失調症	日本	○	○	○	○	○実施中				

## 導出済みプログラム一覧

(提出日現在)

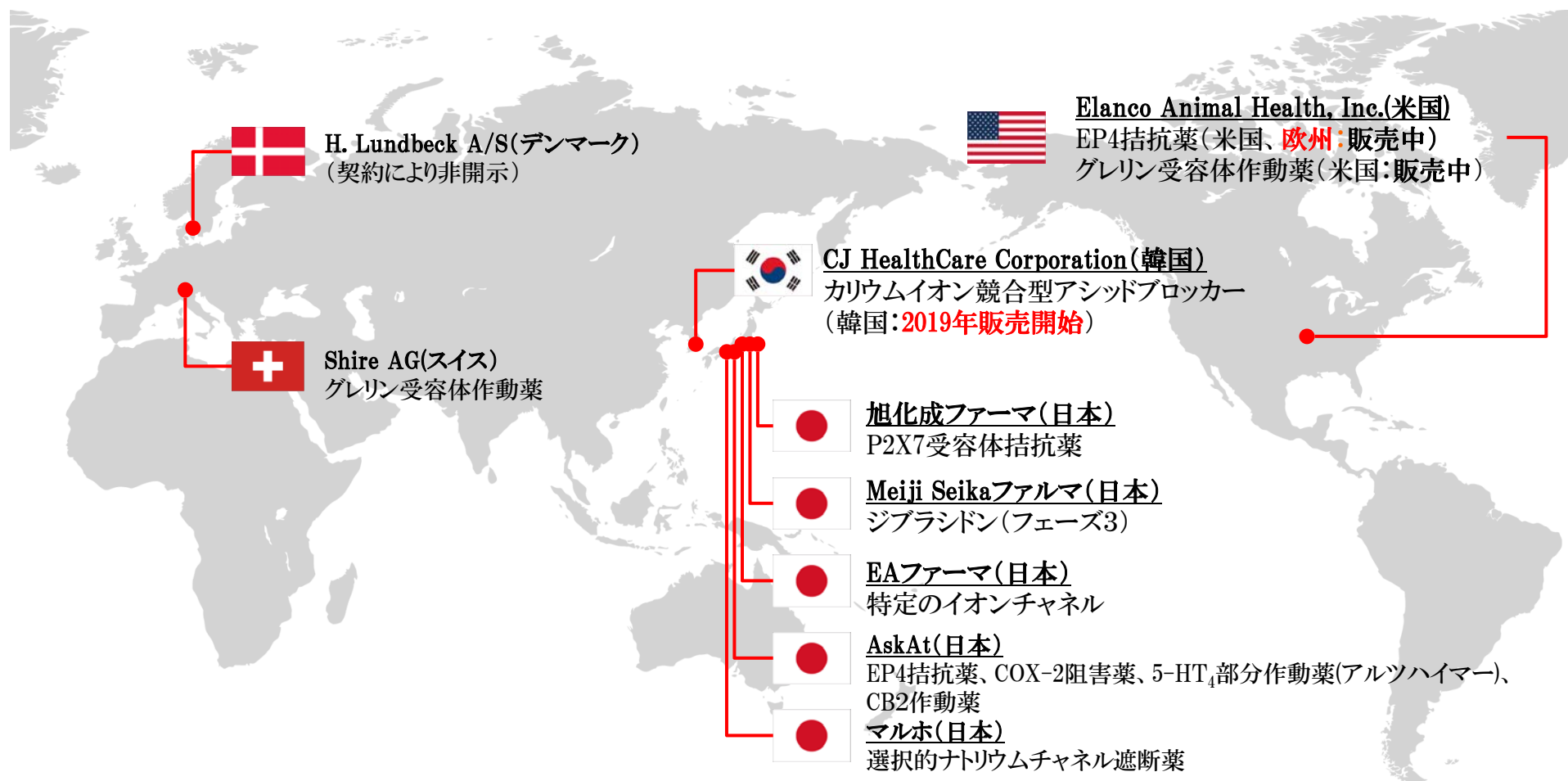
EP4拮抗薬	grapiprant RQ-00000007	変形性関節症	全世界 (ヒト)	フェーズ2実施:米国 フェーズ1実施中国	株式会社AskAt
		自己免疫疾患 アレルギー、がん	全世界 (ヒト)	フェーズ1b実施:米国 フェーズ1実施中国	
	RQ-00000008	変形性関節症 自己免疫疾患他	全世界 (ヒト)	前臨床終了	
		疼痛、炎症	全世界 (動物)	前臨床終了	
5-HT <sub>4</sub> 部分作動薬	RQ-00000009	アルツハイマー病	全世界	フェーズ1終了:米国	
シクロオキシゲナーゼ-2 (COX-2) 阻害薬	RQ-00317076	急性痛	全世界	フェーズ2a終了:米国	
選択的ナトリウム チャンネル遮断薬	非開示	鎮痛・鎮痒	全世界	前臨床実施中	マルホ株式会社
P2X <sub>7</sub> 受容体拮抗薬	RQ-00466479	神経障害性疼痛	全世界	前臨床実施中	旭化成ファーマ 株式会社
特定のイオンチャンネル	非開示	消化器領域	全世界	非開示	EAファーマ 株式会社

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 導出済みプログラム

(提出日現在)

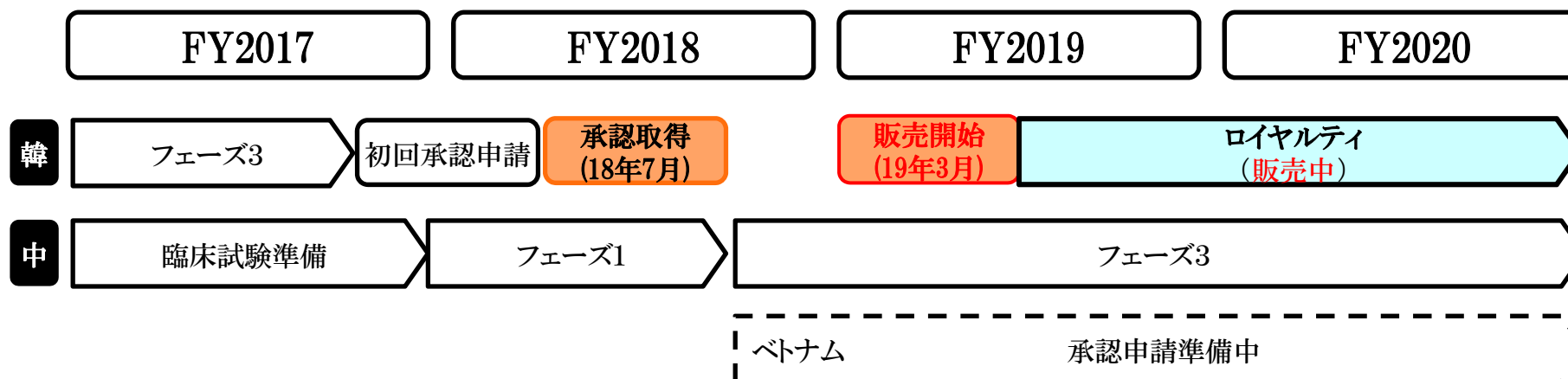
- 世界5カ国9社13件のライセンス契約
- パートナー企業による順調な臨床開発



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。



## 『tegoprazan』の開発ロードマップ



**導 出 先** CJ HealthCare Corporation

**適 応 症** 非びらん性胃食道逆流症(Non-Erosive Reflux Disease:NERD)  
 びらん性胃食道逆流症(Erosive Esophagitis:EE)  
 胃潰瘍(Gastric Ulcer:GU)

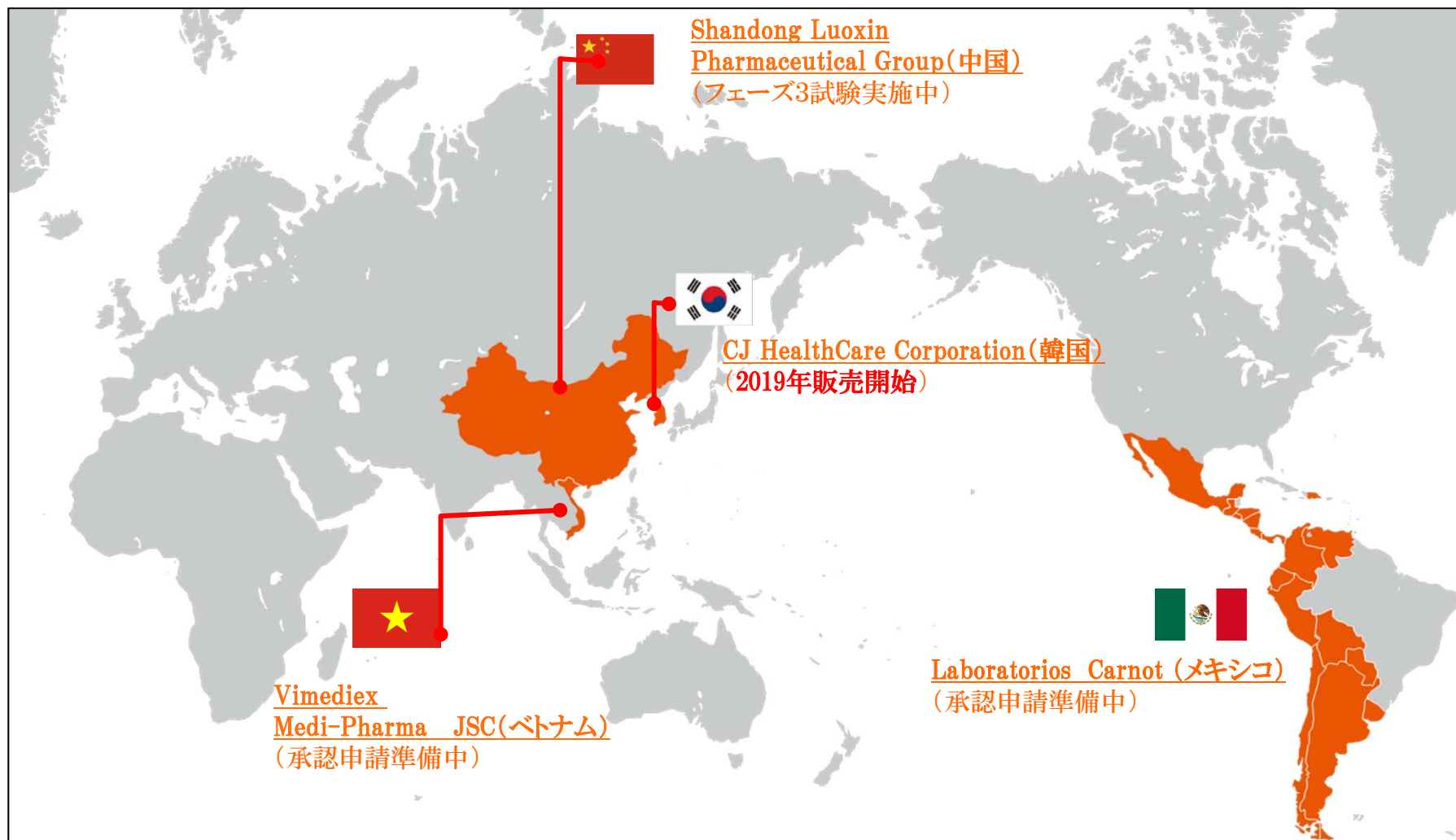
**開 発 状 況** 韓国:2018年初回承認取得、2019年3月販売開始  
 中国:フェーズ3実施中(2018年10月～)

**参 考 情 報** 市場規模(韓国);約500億円(約5,000億ウォン)※  
 市場規模(中国);約2,600億円(約26億ドル)※

※当社調べ

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 『tegoprazan』の開発状況(サブライセンス先の状況含む)



## 主なパイプラインの状況：動物薬

(提出日現在)

- GALLIPRANT®は、ライセンス先であるAratana(米国)及び同社の戦略的提携先であるElanco Animal Health(米国:※)が2017年1月に犬の変形性関節症に伴う痛みと炎症の治療薬として販売を開始しました。また、2016年2月に動物薬として欧州承認申請を行い、2018年1月に欧州における承認を取得し、2019年3月に欧州で同剤を発売しました。
- ENTYCE®は、ライセンス先であるAratana(米国)において動物薬臨床試験の最終段階である大規模試験で良好な結果が得られ、2016年5月に犬の食欲不振治療薬として、米国において製造販売承認を取得し、2017年10月に販売開始をいたしました。また、猫の食欲不振治療薬として開発を進めており、2018年2月に猫における長期毒性試験を終了し、ピボタル試験を実施中です。

プロジェクト	化合物 (一般名)	導出先	主適応症	パイロット 試験	ピボタル 試験	申請	承認	販売
EP4拮抗薬 GALLIPRANT®	RQ-0000007 (grapiprant)	Aratana Therapeutics, Inc.	変形性関節症 (米)	○	○	○	○	● 販売開始 (2017年1月:米)
			変形性関節症 (欧)	○	○	○	○	● 販売開始 (2019年3月:欧)
グレリン受容体 作動薬 ENTYCE®	RQ-0000005 (capromorelin)	Aratana Therapeutics, Inc.	食欲不振:犬	○	○	○	○	● 販売開始 (2017年10月:米)
			食欲不振:猫	○	●			● 実施中

※Eli Lilly and Companyの動物薬部門

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 動物薬の開発ロードマップ

### GALLIPRANT<sup>®</sup> grapiprant/RQ-00000007

FY2017

FY2018

FY2019

FY2020

米

販売開始  
(17年1月～)

ロイヤルティ  
(販売中)

欧

承認申請  
(16年2月)

承認取得  
(18年1月)

販売開始  
(19年3月)

ロイヤルティ  
(販売中)

### ENTYCE<sup>®</sup> capromorelin/RQ-00000005

FY2017

FY2018

FY2019

FY2020

米  
(イヌ)

販売開始  
(17年10月～)

ロイヤルティ  
(販売中)

米  
(ネコ)

長期毒性試験  
(16年12月～18年2月)

ピポタル試験  
(18年2月～)

## EP4拮抗薬: GALLIPRANT®/grapiprant/RQ-00000007

- 米国での販売は順調に増加
- 非ステロイド性消炎鎮痛剤(NSAIDs)でのリーディングブランドに

適 応 症 犬の変形性関節症(慢性炎症性疼痛)

特 徴 世界初のEP4拮抗薬。既存のNSAIDsと比べて胃腸障害や腎障害などの副作用が少なく、診断後の最初期から使用可能。

開 発 状 況

- 米国: 販売中 (2017年1月~)
- 欧州: 承認取得(2018年1月)、2019年3月販売開始

導 出 状 況

- Aratanaに動物薬としての全世界の権利を導出済み
- AratanaはEli Lilly and Companyから分離・独立したElancoとの間で戦略的提携を締結、2019年7月、ElancoがAratanaを買収

## グレリン受容体作動薬: ENTYCE® / capromorelin / RQ-00000005

➤ 米国約2万5000の獣医診療所のうち約半数がENTYCE®を注文

適 応 症 犬の食欲不振症(体重減少)

特 徴 世界初のグレリン受容体作動薬  
食欲不振症治療薬として初めてFDAの承認を取得  
飲みやすい経口液剤で、急性・慢性の両方に使用可能。

開 発 状 況

- ・米国: 販売中(2017年10月～)
- ・米国: ネコの食欲不振でピボタル試験実施中

導 出 状 況

- ・Aratanaに動物薬としての全世界の権利を導出済み。
- ・2019年7月、ElancoがAratanaを買収

## 導出準備プログラム

(提出日現在)

- カリウムイオン競合型アシッドブロッカー:P-CAB(tegoprazan/RQ-00000004)は、フェーズ1の治験総括報告書作成完了(2016年12月)
- 5-HT<sub>4</sub>部分作動薬(RQ-00000010)は、フェーズ1の治験総括報告書作成完了(2017年10月)
- 5-HT<sub>2B</sub>拮抗薬(RQ-00310941)は、フェーズ1の治験総括報告書作成完了(2018年4月)
- モチリン受容体作動薬(RQ-00201894)は、前臨床試験が終了、フェーズ1の検討中
- グレリン受容体作動薬(RQ-00433412)及びTRPM8遮断薬(RQ-00434739)は、前臨床試験の検討中

プロジェクト	化合物	主適応症	臨床試験						実施地域		
			探索	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	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)	RQ-00000004 (tegoprazan)	胃食道逆流症 (GERD)	○	○	●						米国 日本
5-HT <sub>4</sub> 部分作動薬	RQ-00000010	胃不全麻痺 機能的胃腸症 慢性便秘	○	○	●						英国
5-HT <sub>2B</sub> 拮抗薬	RQ-00310941	下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)	○	○	●						英国
モチリン受容体作動薬	RQ-00201894	胃不全麻痺 機能的胃腸症 術後イレウス	○	●	○						日本
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	●	○	○						日本
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	神経障害性疼痛 (化学療法起因性冷アロディニア)	●	○	○						日本

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 特許関連ニュース

日付	対象	地域	内容
2019年8月6日	<u>カリウムイオン競合型アシッドブロッカー(P-CAB)に関する新規用途</u>	欧州	用途特許
2019年7月23日	<u>Nav1.7およびNav1.8ナトリウム遮断薬(アミド誘導体)</u>	日本	物質特許
2019年4月9日	<u>グレリン受容体作動薬(セリン誘導体)</u>	韓国	物質特許
2018年11月5日	選択的ナトリウムチャンネル遮断薬 (アミド誘導体)	欧州	物質特許
2018年6月12日	選択的TRPM8遮断薬 (アザスピロ誘導体)	米国	物質特許
2018年2月13日	選択的ナトリウムチャンネル遮断薬 (ピラゾロピリジン誘導体)	米国	物質特許
2018年2月13日	グレリン受容体作動薬 (セリン誘導体)	欧州	物質特許



# 産学官連携

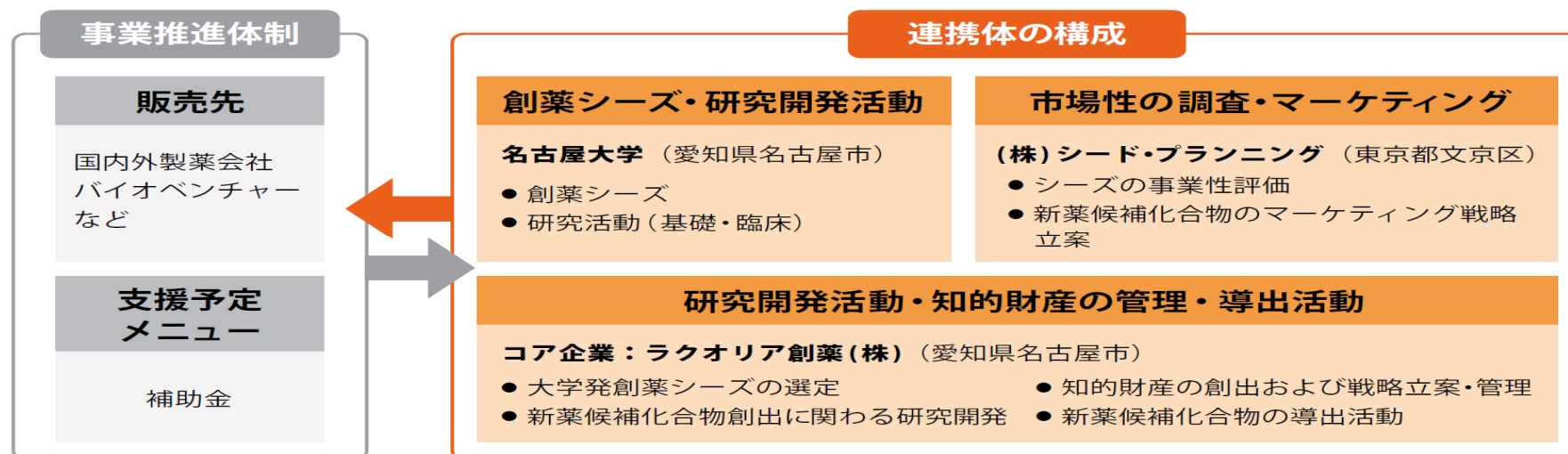
## 産学連携におけるラクオリアのミッション

### ■ ラクオリアのビジョン

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

- **名古屋大学**(アカデミア)保有の基礎と臨床の技術および知見に立脚し、臨床現場ならびに医薬品市場が求めるニーズに応じた「革新的な新薬の種(新薬候補化合物)」の取得について、プログラムの最初期段階から連携することにより、ワンストップかつ経済的でスピーディーな「創薬」を推し進め、知的財産各種のデータ等の事業成果物を取得し、**名古屋大学発**、中部発の「新薬の種」を国内・海外の製薬会社、バイオベンチャーにライセンスアウトし、収益を上げる
- 将来的には、**名古屋大学**を中心とした中部圏(地域)を米国のシリコンバレーに見られるような、革新的な新薬を創成するハブとする

### 『名古屋大学発シーズから効率的に新薬を見出すための「創薬」のサービスモデル』



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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

## 産学官連携の状況

### 難治性神経芽腫の治療薬の開発を目的とした特定の酵素の選択的阻害剤の探索(2015年5月)

名古屋大学大学院医学系研究科生物化学講座分子生物学(門松 健治 教授)

### 心不全治療薬の開発を目的とした特定タンパク質に対する選択的阻害剤の探索(2015年10月)

名古屋大学大学院医学系研究科循環器内科学(竹藤 幹人 助教)

### 非アルコール性脂肪肝炎(NASH)治療薬の探索(2016年9月開始、2018年10月更新)

名古屋大学環境医学研究所分子代謝医学分野(菅波 孝祥 教授)

### 細胞老化を利用した変異型KRAS肺癌の新規治療薬開発(2018年1月)

名古屋大学大学院医療技術学専攻病態解析学講座(佐藤 光夫 教授)

### TRPM8遮断薬(RQ-00434739)の中枢における作用機序の解明(2018年10月)

名古屋大学環境医学研究所脳機能分野(澤田 誠 教授)

### 網膜静脈閉塞症(RVO)治療薬の探索(2019年5月)

岐阜薬科大学生体機能解析学大講座薬効解析学研究室(原 英彰 教授)

### 筋委縮性側索硬化症(ALS)の新規治療薬の創出に向けた初期探索研究(2019年7月)

名古屋市立大学薬学系研究科病態生化学分野(築地 仁美 講師)

## 子会社の状況

## テムリック株式会社：TM-411の開発状況

- 急性骨髄性白血病(AML)/骨髄異形成症候群(MDS)は、単剤フェーズ2試験に基づき、引き続き5-アザシチジン(セルジーン)と併用した場合の効果や安全性を調べるフェーズ2試験(多剤併用)を実施中。**初期データの結果は良好。**
- 乳がん(BC)は、AML/MDSの併用試験の効果状況を鑑みて開始予定。
- 神経芽腫(NB)は、Epigenetic作用薬との併用により、POCを確立し、新薬承認を目指す。
- 急性前骨髄球性白血病(中国・APL)は、亜ヒ酸との併用によるATRA再発並びに不応性APLに対する中国での輸入承認を目指す。
- 好中球減少症(NP)は、導出交渉中で、可能な限り早期契約締結を目指し、がん適応以外への拡大を図る。

適応症	導出先	臨床試験							契約地域	
		探索	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	承認		販売
急性骨髄性白血病 Acute Myeloid Leukemia: AML	Syros Pharmaceutical, Inc.(米)	○	○	○	●					米国
骨髄異形成症候群 Myelodysplastic Syndromes: MDS	Syros Pharmaceutical, Inc.(米)	○	○	○	●					
乳がん Breast Cancer: BC	Syros Pharmaceutical, Inc.(米)	○	●	○	○					米国
神経芽腫 Neuroblastoma: NB	大原薬品工業株式会社	○	○	●						日本
急性前骨髄球性白血病 Acute Promyelocytic Leukemia: APL	東光薬品株式会社	○	○	○	○	○	○	●		中国
好中球減少症 Neutropenia: NP	導出交渉中	○	●							米国

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。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

ラクオリア イノベーションズ株式会社:本格稼働へ

## ラクオリア イノベーションズ株式会社

(英文表記:RaQualia Innovations Inc.)

### 主な事業内容

- 1) アカデミア研究者発の医薬品候補化合物の事業化推進
- 2) バイオベンチャーに対する最適ソリューションの提供と協業推進
- 3) 小児向けのオーファンドラッグの開発支援
- 4) これら事業展開を加速するためのファンドの創設

### 設立

2018年12月7日

### 資本金

500万円(出資額の合計1000万円)

### 代表取締役

河田 喜一郎(当社取締役専務執行役員)

- ベンチャーキャピタル、医薬品メーカー、国内外のアカデミア、TLO(技術移転機関)との関係構築
- 本年4月に新会社ホームページ公開



## 将来の見通しに関する注意事項

- 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などが含まれますが、これらに限定されるものではありません。
- 今後、新しい情報・将来の出来事等があった場合であっても、当社は、本発表に含まれる「見通し情報」の更新・修正を行う義務を負うものではありません。



RaQualia  
innovators for life

お問合せ先

当社HPからお願いいたします。

<https://www.raqualia.co.jp/>

RaQualia Pharma Inc.