

4579

ラクオリア創薬

当レポートは、掲載企業のご依頼により株式会社シェアードリサーチが作成したものです。投資家用の各企業の『取扱説明書』を提供することを目的としています。正確で客観性・中立性を重視した分析を行うべく、弊社ではあらゆる努力を尽くしています。中立的でない見解の場合は、その見解の出所を常に明示します。例えば、経営側により示された見解は常に企業の見解として、弊社による見解は弊社見解として提示されます。弊社の目的は情報を提供することであり、何かについて説得したり影響を与えたりする意図は持ち合わせておりません。ご意見等がございましたら、sr_inquiries@sharedresearch.jp までメールをお寄せください。



目次

要約	3
主要経営指標の推移	6
直近更新内容	7
業績動向	10
四半期実績推移	10
事業内容	17
ビジネスモデルの概要	17
パイプラインの概要	22
市場とバリューチェーン	35
競合他社動向	38
SW (Strengths, Weaknesses) 分析	39
過去の業績と財務諸表	42
損益計算書	42
貸借対照表	42
キャッシュフロー計算書	43
過去の業績	44
ニュース&トピックス	53
その他の情報	62
企業概要	64

要約

事業概要

ラクオリア創薬株式会社（以下、同社）は、主に低分子化合物の探索研究により新規化合物（シーズ）を創製し、製薬会社などに開発権や販売権を導出する研究開発特化型企業である。探索研究から初期臨床開発段階（第Ⅱ相臨床試験）までを、同社が行う創薬ステージと捉えており、疼痛、消化器疾患、がん・免疫領域などの幅広い領域をターゲットとした新薬開発を行っている。同社の事業収益（売上高）は、導出先企業からの契約一時金、マイルストーン収入、導出先が上市した後の売上に対応したロイヤルティ収入、共同研究に伴う協力金などで構成される。既に4製品が導出先から上市されており、長期的かつ安定的なロイヤルティ収入が主要な財源となっている。2022年12月期の事業収益は2,918百万円で、そのうち5割強をロイヤルティ収入、4割強を契約一時金やマイルストーン収入が占める。

2021年の医薬品売上高世界1位の米国の製薬会社のPfizer Inc.（NYSE、PFE、以下、ファイザー社）は、2007年に行った全世界の研究再編の一環として、日本法人中央研究所の閉鎖を決定した。これを受けて中央研究所はEBOによりファイザー社から独立し、2008年7月に創業した。同社は創業前の2008年6月にファイザー社から、探索段階および開発段階にあった複数のプロジェクトに関する知的財産権を譲受した。ファイザー社から譲受した一部の化合物については、同社が他社に権利を導出する場合、同社はファイザー社に対してロイヤルティを支払い、事業原価に計上する。

同社は、導出先企業が上市済みの4品目（tegoprazan（K-CAB[®]、以下、テゴプラザン）、GALLIPRANT[®]、ENTYCE[®]、ELURA[®]）に加え、導出済のプログラム12化合物、導出準備プログラム6化合物を有する。テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD）*を主な適応症としたカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB*²）である。2010年9月に韓国のCJ Healthcare Corporation（現・HK inno.N Corporation（195940、KOSDAQ）、以下、HKイノエン社）に韓国、香港を含む中国、台湾地域における商用化の導出契約を締結した。2019年以降徐々に地域を拡大して、日本を除いた全世界における権利をHKイノエン社に供与している。

HKイノエン社は韓国でK-CAB[®]を上市し、2028年までに世界100カ国への進出を目指しており、HKイノエン社とそのライセンス先である企業が、韓国を除く35カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。2023年9月時点で、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポールの7カ国においてテゴプラザンが販売されている。また、アルゼンチンなど29カ国において臨床開発の実施、現地の規制当局による承認審査、発売準備の段階にある。

*胃食道逆流症（GERD：Gastroesophageal Reflux Disease）は胃の内容物、特に胃酸が食道内に逆流することによって、胸やけなどの特徴的な症状をもたらす疾患。胃酸や胃の内容物が逆流することによる胸やけや呑酸などの症状があるにもかかわらず、内視鏡で食道粘膜に障害を認めない病態を「非びらん性胃食道逆流症（NERD：Non-erosive Reflux Disease）」という。

*²P-CAB：Potassium-Competitive Acid Blocker（カリウムイオン競合型アシッドブロッカー）は、既存治療で使用されるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なる作用を持つ薬剤である。既存のPPIが、体内で酸により活性体になってから胃酸の分泌抑制作用を現すのに対し、P-CABは酸による活性化を必要とせず、胃酸を分泌するために必要なカリウムイオンの結合を阻害することで、速やかで有用な胃酸分泌作用を現す。

GALLIPRANT[®]（ガリプラント）、ENTYCE[®]（エンタイス）、ELURA[®]（エルーラ）は、ペット向け医薬品である。当該3品は、米国Eli Lilly and Co.（NYSE、LLY、以下、リリー社）を起源とする米国Elanco Animal Health, Inc.（NYSE、ELAN、以下、エランコ社）に対し、2010年12月に全世界における権利を導出した。GALLIPRANT[®]の2021年12月期の売上高は100百万米ドル（約12,500百万円）に達し、エランコ社史上10個目のブロックバスターとなった。

同社は、新薬上市の成功確率向上とバリューアップのため、テゴプラザンとグレリン受容体作動薬の2つのプログラムについては自社開発を進める方針であった。テゴプラザンについては、2021年12月期までにHKイノエン社に日本以外の市場における権利を導出したが、日本における権利は同社が有する。第Ⅰ相臨床試験にあたる臨床薬理試験を2023年12月期に終了して2024年12月期に導出を計画していた。しかし、最速の上市を目指して、臨床薬理試験を行わずに2023年12月期に導出する計画に変更した。また、がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発を進めているグレリン受容体作動薬は、2023年末までに同社による前臨床試験を完了する予定である。

2021年3月から新しい経営体制となり、疼痛・消化器中心だった疾患領域を、神経疾患へ拡大した。2022年12月期現在ではアンメットメディカルニーズ*が大きい神経変性疾患、遺伝病、希少疾患などを重点領域として、恒常的に新薬を創出する方針である。前経営陣は非臨床準備段階での導出を目指していたが、上市確率が低い開発初期段階での導出は、成約の確率が低だけでなく、契約一時金やマイルストーン収入、販売ロイヤルティレートが低く設定されてし

まう。そのため同社は、POC*²（Proof of Concept）が得られるまで自社開発を行った上で、ライセンスアウトする方針に変更した。

*アンメットメディカルニーズとは、まだ有効な治療法がない疾患に対する医療ニーズのこと。具体的には、がんや認知症、多発性硬化症など重篤な疾患のほか、不眠症や片頭痛など、生命には支障はなくてもQOL改善のため、革新的な新薬が期待されている。

*² POCとは、研究開発中の新薬候補物質の有用性・有効性が疾患の治療薬になりうるという仮説（臨床コンセプト）が、ヒトに投与されて実証され、認められること。創薬においては、3段階の臨床試験のうち第II相試験で、候補物質が少数の患者に対して実際の治療効果を示すか否かを、適切な指標を用いて実証する。

同社は、イオンチャネルをターゲットとした創薬研究による5本のプログラムの導出実績がある。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である。さまざまな細胞に発現し、種類によって通過できるイオンが決まっている。細胞機能の維持に必須であり、さまざまな生理現象にイオンチャネルが深く関与している。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があるが、イオンチャネルは心臓や脳など生命活動の根幹を担う臓器に広く発現しているため、心毒性や神経毒性といった致命的な副作用が出やすい傾向がある。創薬の難易度が高いことから参入する企業が少なく、イオンチャネルをターゲットとした医薬品は全体の10%未満にすぎない。同社によれば、同分野で5つのライセンスを導出している企業は、世界でも同社以外にはない。

業績動向

2022年12月期実績は、事業収益2,918百万円（前期比5.1%増）、営業利益866百万円（同22.4%増）、経常利益904百万円（同4.7%増）、親会社株主に帰属する当期純利益723百万円（同4.3%減）。HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（テゴプラザン、KCAB[®]）のグローバルな業績拡大が業績をけん引し、Elanco社のペット用医薬品、GALLIPRANT[®]、ENTYCE[®]、ELURA[®]の販売が堅調に推移した。これら上市品4品目からのロイヤルティ収入の増加に加え、導出済プログラムからはP2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入とペット用医薬品用途の新たなライセンス契約締結による一時金を受領、円安効果もあり2期連続の営業黒字を達成した。

2023年12月期会社予想は、事業収益2,799百万円（前期比4.1%減）、営業利益260百万円（同70.0%減）、経常利益242百万円（同73.2%減）、親会社株主に帰属する当期純利益183百万円（同74.7%減）。上市品4品目からのロイヤルティ収入は堅調に推移することに加え、新たなライセンス契約の締結による一時金収入および開発の進捗に伴うマイルストーン収入を見込んでいる。開発スケジュール変更などで事業費用が同23.7%増加することから減益を予想。想定為替レートは、1米ドル125.00円。第2四半期決算発表時点で、業績予想に変更はない。

同社は2022年12月期の決算発表と同時に、2023年12月期から2025年12月期までの3年間の中期経営計画を発表した。最終年度の目標は、事業収益4,185百万円（3年間CAGR12.8%）、営業利益1,325百万円（同15.2%）、経常利益1,330百万円（同13.7%）、当期純利益1,166百万円（同17.2%）。中長期的な成長に向けて設備投資や開発費の増加を見込んでいるが、安定的な事業収益により3期連続の営業黒字確保を目指す。想定為替レートは、1米ドル125.00円。

同社の強みと弱み

株式会社シェアードリサーチでは、同社の強みを以下の3点だと考える。

- 1) 製薬会社基準の研究プロセスや業務手順に基づくイオンチャネル創薬に注力していること
- 2) 「特許」を数百件保有すること
- 3) 同社が保有する膨大な数の化合物ライブラリーとSCARAロボットシステムによる効率的な候補化合物の選定を行えること

一方、弱みは以下の3点だと考える。

- 1) 創薬モダリティ*（創薬手法）が低分子に偏っていること

*創薬モダリティとは、どういう薬をどんな方法で何から作るか、という創薬手法のこと。従来は分子量500以下の合成された化学物質による低分子医薬が大半を占めていたが、現在はタンパク質（ホルモン、生体成分など）、抗体医薬、核酸医薬、中分子医薬、再生医療などさまざまなモダリティが存在する。

2) マイルストーンやロイヤルティはライセンス先の開発の進捗や業績によるため、収益の多寡や時期のコントロールができないこと

3) 研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

主要経営指標の推移

損益計算書 (百万円)	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期
	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	会予
事業収益	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776	2,918	2,799
前年比	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.7%	-35.0%	150.7%	5.1%	-4.1%
事業費用	2,366	2,276	2,010	1,465	1,570	1,820	1,719	1,593	2,068	2,052	
前年比	-11.2%	-3.8%	-11.7%	-27.1%	7.1%	15.9%	-5.5%	-7.3%	29.8%	-0.8%	
営業利益	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708	866	260
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	22.4%	-70.0%
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	25.5%	29.7%	9.3%
経常利益	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864	904	242
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	4.7%	-73.2%
経常利益率	-	-	-	-	-	-	1.3%	-	31.1%	31.0%	8.6%
当期純利益	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756	723	183
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-4.3%	-74.7%
純利益率	-	-	-	-	-	-	0.3%	-	27.2%	24.8%	6.5%
一株当たりデータ (円、株式分割調整後)											
期末発行済株式数 (千株)	13,557	14,857	18,767	18,767	20,295	20,388	20,950	20,952	20,955	20,977	
EPS (円)	-82.7	-45.7	-116.5	-38.8	-3.0	-54.2	0.3	-29.0	36.1	34.5	8.7
EPS (潜在株式調整後) (円)	-	-	-	-	-	-	0.3	-	36.0	34.5	
DPS (円)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
BPS (円)	424	315	240	201	240	189	220	191	228	262	
貸借対照表 (百万円)											
現金・預金・有価証券	4,035	1,891	1,840	1,428	2,268	1,671	2,174	1,394	2,345	3,675	
流動資産合計	4,364	3,261	2,708	1,806	3,322	1,962	3,067	2,834	4,004	4,822	
有形固定資産	7	85	261	249	216	318	249	333	299	391	
投資その他の資産計	2,266	1,844	1,769	1,951	1,516	1,738	1,488	1,051	897	1,020	
無形固定資産	12	12	14	13	10	34	32	33	34	24	
資産合計	6,648	5,202	4,752	4,019	5,064	4,052	4,837	4,251	5,234	6,258	
短期有利子負債	-	-	-	-	-	1	1	18	22	46	
流動負債合計	233	262	200	190	149	164	183	187	401	494	
長期有利子負債	-	-	-	-	-	2	2	27	18	177	
固定負債合計	669	109	38	41	27	31	33	53	46	267	
負債合計	902	371	238	231	176	195	216	240	446	761	
自己資本	5,713	4,821	4,503	3,773	4,871	3,845	4,608	3,999	4,777	5,489	
純資産合計	5,746	4,831	4,514	3,788	4,888	3,857	4,621	4,011	4,788	5,497	
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	3	2	46	39	222	
キャッシュフロー計算書 (百万円)											
営業活動によるキャッシュフロー	-2,179	-2,081	-2,117	-681	-307	-404	-531	-289	366	1,480	
投資活動によるキャッシュフロー	952	-796	666	-441	534	-368	216	225	-279	-48	
財務活動によるキャッシュフロー	309	762	1,702	-	1,007	99	696	-7	-16	-30	
財務指標											
総資産経常利益率 (ROA)	-30.0%	-32.8%	-36.1%	-16.4%	-1.8%	-23.4%	0.5%	-11.6%	18.2%	15.7%	
自己資本純利益率 (ROE)	-20.1%	-8.8%	-39.8%	-17.6%	-1.3%	-25.3%	0.1%	-14.1%	17.2%	14.1%	
自己資本比率	85.9%	92.7%	94.8%	93.9%	96.2%	94.9%	95.3%	94.1%	91.3%	87.7%	

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

**事業費用には、事業原価、研究開発費、その他の販売費および一般管理費を含む

直近更新内容

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのシンガポールにおける販売開始

2023年9月4日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのシンガポールにおける販売開始に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、同社のサブライセンス先企業であるUnited Italian Trading Corporation (Pte) Ltd. (非上場、以下、UITC社) が、HK inno.N Corporation (KOSDAQ 195940、以下、HKイノエン社) を通じてライセンスした胃食道逆流症治療薬tegoprazan (以下、テゴプラザン) について、シンガポールにおいて製品販売を開始した、と発表した。

シンガポールにおいては、2023年1月にUITC社がシンガポール当局から、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法の4つを適応症とする販売承認を取得した。その後、販売に向けた準備を進め、同年8月31日にUITC社は発売記念シンポジウムを開催した。なお、当社によれば、シンガポールにおける消化性潰瘍薬の市場規模は、約1,600百万円である。

同社は、HKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権 (サブライセンス権) 付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および同社からライセンスを受けた世界各国のサブライセンス先企業によってテゴプラザンに関する事業活動が進められている。今回のシンガポールでの販売開始により、テゴプラザンが販売されている国は、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポールの7カ国となった。このほか29カ国において、臨床開発・承認審査・販売準備に関する取り組みが現在進められている。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がKalbe社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本件に伴って受領する一時金はなく、本件による2023年12月期の通期連結業績への影響は軽微である。

Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬(アミド誘導体)の韓国における特許査定

2023年8月10日

ラクオリア創薬株式会社は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬(アミド誘導体)の韓国における特許査定に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、韓国で審査中であった、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬 (アミド誘導体) の物質特許について、特許査定の連絡を受けた、と発表した。特許査定とは各国特許庁の審査により、特許権を与える価値がある出願発明であると判断された場合に示される評価で、特許料の納付により登録特許となり、該当国における特許権が発生する。

今回特許査定を受けたアミド誘導体は、当社が2023年3月2日に開示した中国における特許査定と、同じシリーズの誘導体である。今回の特許査定により、日本、欧州、米国、中国に引き続き、韓国においても同社の知的財産権が強化される事となった。

当社が創出したナトリウムチャネル遮断薬は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネルに対して特異的に作用し、複数の疼痛モデル動物において高い有効性を示すことが確認されている。一方で、心臓で重要な働きをするNav1.5ナトリウムチャネルに対して良好な選択性を示すことから、心血管系に対する副作用を抑制する可能性のある画期的新薬として、様々な医療ニーズに応えることが期待される。今回の選択的ナトリウムチャネル遮断薬は、同社の強みであるイオンチャネル活性評価と疼痛領域に関する創薬経験を活かした成果である。同社は、今後も知的財産のポートフォリオの強化・充実に努めていく、としている。

なお、当社によれば、本特許査定による2023年12月期通期連結業績への影響はないが、同社は、特許査定を受けたアミド誘導体は、今後の開発等を通じて中長期的に同社の企業価値の向上に寄与するものと考えている。

カンナビノイドCB2受容体作動薬RQ-00202730の第I相臨床試験開始

2023年7月28日

ラクオリア創薬株式会社は、カンナビノイドCB2受容体作動薬RQ-00202730の第I相臨床試験開始に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、AskAt社（非上場）に導出したカンナビノイドCB2受容体作動薬（以下、本CB2作動薬）について、サブライセンス先のOxford Cannabinoid Technologies Holdings plc（LSE OCTP、以下、OCT社）が英国において第I相臨床試験（以下、フェーズ1試験）を開始した、と発表した。このフェーズ1試験は、本CB2作動薬にとって初めての臨床試験であり、OCT社が契約する医薬品開発業務受託機関において、被験者への投与が行われた。フェーズ1試験の主な目的は、安全性、忍容性および薬物動態に関する情報を取得し、本CB2作動薬の医薬品としての価値を評価することである。OCT社は、2023年12月期第3四半期にフェーズ1試験結果の取得を予定している。

OCT社は、化学療法誘発性末梢神経障害（以下、CIPN）を主な適応症として本CB2作動薬の臨床開発を進めている。CIPNは、ある種の抗がん剤の副作用として発症し、痛みやしびれなど患者の生活の質を大きく損なう症状を引き起こす。OCT社によると、CIPNのグローバルの市場規模は16.1億米ドル（約225十億円、1米ドル140円）であり、2027年には23.7億米ドル（約330十億円、同）に達すると予測されている。

同社は、AskAt社との契約に基づき、AskAt社がOCT社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。また、本件に伴い、同社はAskAt社から一時金を受領し、2023年12月期第3四半期の事業収益として計上する。なお、同社によれば、本件による2023年12月期通期連結業績への影響は軽微である。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのペルーにおける販売承認

2023年7月24日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのペルーにおける販売承認に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、サブライセンス先企業であるLaboratories Carnot（非上場、以下、Carnot社）が、ペルーの保健省医薬品・医療消耗品局（Dirección General de Medicamentos Insumos y Drogas（DIGEMID）、以下ペルー当局）より、びらん性胃食道逆流症をはじめとする4つの適応疾患に対する販売承認を取得した、と発表した。

同社は、HKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および同社からライセンスを受けた世界各国のサブライセンス先企業によってテゴプラザンに関する事業活動が進められている。今回のペルーでの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコに次ぐ8カ国目となる。

2019年に、HKイノエン社とCarnot社の間でペルーを含む中南米17カ国を対象としたサブライセンス契約が締結され、以後、Carnot社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めていた。このたび、ペルー当局による審査が完了し、販売承認の取得に至った。今回、承認が得られた適応疾患は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法法の4つである。ペルーを含む中南米17カ国における消化性潰瘍薬の市場規模は約57,000百万円であり、2023年5月には中南米における医薬品市場第2位のメキシコにおいて販売が開始された。同社は、メキシコ、ペルーに続き、他の中南米諸国でも製品上市に向けた動きが進展することを期待している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がCarnot社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本件に伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領し、2023年12月期第3四半期の事業収益として計上するが、2023年12月期業績への影響は軽微である。

タミバロテンとがん治療薬併用投与の日本における用途に関する特許査定

2023年7月12日

ラクオリア創薬株式会社は、タミバロテンとがん治療薬併用投与の日本における用途に関する特許査定に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、子会社テムリック社が権利を有するタミバロテン (AM80) の用途に関して同社が出願し、日本で審査中であった特許について、特許査定の連絡を受けた、と発表した。特許査定とは各国特許庁の審査により、特許権を与える価値がある出願発明であると判断された場合に示される評価で、特許料の納付により登録特許となり、該当国における特許権が発生する。

本発明は、合成のレチノイド (ビタミンAやその誘導体) であるタミバロテンと、がん治療薬の併用療法が有効ながん患者の選択方法、およびレチノイドとがん治療薬との併用医薬に関するものである。2023年3月に公表した「名古屋大学を代表機関とするタミバロテンの膀胱がん・尿路上皮がんに対する臨床研究・医師主導治験」とも関連している。

同社によれば、膀胱がんなどに代表される抗がん剤治療抵抗性のがんでは、がん周辺の微小環境を形成する「がん関連線維芽細胞 (CAF)」が抗がん剤の効果減弱に関与していることが注目されている。CAFにはがん促進性の細胞と、がん抑制性の細胞の両者が存在する。本発明において、タミバロテンなどのレチノイドが、がん抑制性CAFの特異的機能マーカーであるメフリン遺伝子の発現を増強し、がん促進性CAFをがん抑制性CAFに変換させる作用を持つこと、レチノイドと従来のがん治療薬との併用投与によって、がんの治療効果が増強されることが見出された。

同社によれば、本特許査定による2023年12月期の業績への影響はないものの、特許査定を受けたタミバロテンの今後の開発などを通じて中長期的に同社の企業価値向上に寄与すると同社は考える。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのインドネシアにおける販売開始

2023年7月10日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのインドネシアにおける販売開始に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、同社のサブライセンス先企業であるPT Kalbe Pharma Tbk (KLBF、以下、Kalbe社) が、HK inno.N Corporation (195940、KOSDAQ 以下、HKイノエン社) を通じてライセンスした胃食道逆流症治療薬tegoprazan (以下、テゴプラザン) について、インドネシアにおいて製品販売を開始したと発表した。

同社は、HKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権 (サブライセンス権) 付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および同社からライセンスを受けた世界各国のサブライセンス先企業によってテゴプラザンに関する事業活動が進められている。

今回のインドネシアでの販売開始により、テゴプラザンが販売されている国は、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコおよびインドネシアの6カ国となった。このほか30カ国において、臨床開発・承認審査・販売準備に関する取り組みが現在進められている。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がKalbe社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本件に伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領し、2023年12月期第3四半期の事業収益として計上する。なお、本件による2023年12月期の通期連結業績への影響は軽微である。

業績動向

四半期実績推移

四半期業績推移 (累計)	21年12月期				22年12月期				23年12月期		23年12月期	
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	進捗率	通期会予
事業収益	656	1,321	1,623	2,776	339	1,447	1,904	2,918	370	1,014	36.2%	2,799
前年同期比	430.7%	254.3%	183.0%	150.7%	-48.3%	9.6%	17.3%	5.1%	9.2%	-29.9%		-4.1%
事業費用	507	1,006	1,516	2,068	459	896	1,403	2,052	479	1,037	40.9%	2,538
前年同期比	27.6%	29.6%	29.1%	29.8%	-9.4%	-10.9%	-7.4%	-0.8%	4.4%	15.8%		23.7%
事業費比率	77.3%	76.2%	93.4%	74.5%	135.3%	61.9%	73.7%	70.3%	129.4%	102.3%		90.7%
研究開発費	256	497	781	1,127	264	528	840	1,249	268	603	36.0%	1,674
前年同期比	14.4%	10.2%	15.6%	20.9%	3.0%	6.4%	7.6%	10.8%	1.7%	14.2%		34.1%
研究開発費比率	39.0%	37.6%	48.1%	40.6%	77.7%	36.5%	44.1%	42.8%	72.4%	59.5%		59.8%
営業利益	149	315	107	708	-120	551	501	866	-109	-23		260
前年同期比	-	-	-	-	-	75.1%	367.6%	22.4%	-	-		-70.0%
営業利益率	22.7%	23.8%	6.6%	25.5%	-	38.1%	26.3%	29.7%	-	-		9.3%
経常利益	268	433	238	864	-70	681	676	904	-110	37	15.2%	242
前年同期比	-	-	-	-	-	57.4%	183.8%	4.7%	-	-94.6%		-73.2%
経常利益率	40.9%	32.8%	14.7%	31.1%	-	47.1%	35.5%	31.0%	-	3.6%		8.6%
四半期純利益	189	303	169	756	-121	469	467	723	-148	25	13.9%	183
前年同期比	-	-	-	-	-	55.0%	175.9%	-4.3%	-	-94.6%		-74.7%
四半期純利益率	28.8%	22.9%	10.4%	27.2%	-	32.4%	24.5%	24.8%	-	2.5%		6.5%
四半期業績推移	21年12月期				22年12月期				23年12月期			
(百万円)	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q		
事業収益	656	665	302	1,153	339	1,108	457	1,014	370	644		
前年同期比	430.7%	166.9%	50.6%	116.0%	-48.3%	66.6%	51.1%	-12.1%	9.2%	-41.9%		
事業費用	507	499	510	552	459	437	507	649	479	568		
前年同期比	27.6%	31.6%	28.2%	31.8%	-9.4%	-12.5%	-0.6%	17.4%	4.4%	27.8%		
事業費比率	77.3%	75.0%	168.7%	47.9%	135.3%	39.4%	111.0%	64.0%	129.4%	86.7%		
研究開発費	256	241	284	347	264	265	312	409	268	335		
前年同期比	14.4%	6.0%	26.6%	34.7%	3.0%	10.0%	9.8%	17.8%	1.7%	26.6%		
研究開発費比率	39.0%	36.2%	93.9%	30.1%	77.7%	23.9%	68.2%	40.3%	72.4%	52.0%		
営業利益	149	166	-208	601	-120	671	-50	365	-109	85		
前年同期比	-	-	-	423.7%	-	304.5%	-	-39.2%	-	-87.3%		
営業利益率	22.7%	25.0%	-	52.1%	-	60.6%	-	36.0%	-	13.3%		
経常利益	268	165	-195	626	-70	751	-5	228	-110	147		
前年同期比	-	-	-	614.1%	-	356.5%	-	-63.6%	-	-80.5%		
経常利益率	40.9%	24.8%	-	54.3%	-	67.8%	-	22.5%	-	22.8%		
四半期純利益	189	114	-133	586	-121	590	-2	256	-148	174		
前年同期比	-	-	-	539.8%	-	416.8%	-	-56.3%	-	-70.6%		
四半期純利益率	28.8%	17.2%	-	50.9%	-	53.3%	-	25.3%	-	27.0%		

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2023年12月期第2四半期実績（2023年8月10日発表）

業績概要

2023年12月期第2四半期（2023年1月～6月）累計実績

- 売上高：1,014百万円（前年同期比29.9%減）
- 営業損失：23百万円（前年同期は551百万円の利益）
- 経常利益：37百万円（前年同期比94.6%減）
- 親会社株主に帰属する四半期純利益：25百万円（同94.6%減）
- 研究開発費：603百万円（同14.2%増）

2023年12月期連結業績予想に対する進捗率は、売上高36.2%、経常利益15.2%、親会社株主に帰属する当期純利益13.9%となった。当期は下期偏重の期初計画となっており、同社によれば若干前倒して推移した。

減収と営業損失計上の要因

当第2四半期（2023年4月～6月）の売上収益は、ロイヤルティ382百万円（前年同期比25.7%減）と、マイルストーンに伴う一時金とシロス社から受領した手数料を合わせて262百万円（同55.8%減）、合計644百万円（同41.9%減）であった。前年同期にはロイヤルティ収入699百万円に加えて、中国におけるテゴプラザンの承認・販売の一時金300百万円を含むマイルストーン収入が434百万円あったことから、当第2四半期累計期間では前年同期比で減収となった。第2四半期（2023年4月～6月）3か月間の売上高は644百万円となり、販売ロイヤルティとその他収入の合計425百万円という第1四半期末の見通しを上回った。シロス社の臨床開発に伴い発生する手数料は、期初予想には織り込まれていなかったことから、計画を上回って着地した。

事業費用の総額は1,037百万円（前年同期比15.8%増）、うち事業原価は同18百万円増加して122百万円（同16.9%増）、研究開発費は同75百万円増加して603百万円（同14.2%増）、その他販売費及び一般管理費は312百万円（同18.7%増）

増)となった。研究開発費は、グレリンの前臨床試験を実施し、臨床試験に向けた原薬製造などを行い、通期計画に対して36.0%の進捗となった。事業収益が減少するなかでコストが増加し、営業損失を計上したが、為替差益90百万円などの営業外収益が営業外費用を上回り、経常利益、四半期純利益は黒字となった。

パイプラインの状況

上市済4製品のロイヤルティは好調

ペット用医薬品の状況

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT®（一般名：グラビプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE®（一般名：カプロモレリン）、および慢性腎不全の猫の体重減少管理の適応を持つELURA®（一般名：カプロモレリン）の売上高は、引き続き順調に推移している。

K-CAB®：韓国におけるテゴプラザンは2ケタ成長を維持

テゴプラザン（K-CAB®）は、口腔内崩壊錠（OD錠）が売上の伸びをけん引し、韓国における売上が引き続き順調に推移した。OD錠の売上に占める割合は、16%であった。HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB®」の当第2四半期における売上（院外処方データ）は、741億ウォン（前年同期比22.2%増、約7,410百万円、1韓国ウォン0.1円換算）と順調に推移した。HKイノエン社は韓国において、抗潰瘍剤市場でのシェアは12%で、第1位を維持している。

テゴプラザンの世界各国における展開

当第2四半期期末（2023年6月末）において、HKイノエン社のライセンス先である企業が、韓国を除く35カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。テゴプラザン製品が販売されている韓国、中国、フィリピン、モンゴルの4カ国に続き、当第2四半期にはメキシコにおいて販売が開始された。2023年7月には、インドネシアにおいても販売が開始され、ペルーにおいては4つの適応疾患に対する販売承認を取得した。ペルーでの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコに次ぐ8カ国目となる。シンガポールでは2023年9月に発売、アルゼンチンなど20以上の国で、現地の規制当局による承認審査が行われている。

中国では、びらん性胃食道逆流症治療薬として、現在31の省・行政区で販売されている。2023年上半期の販売結果に伴うロイヤルティが、2023年12月期第3四半期決算に計上される見込みである。

米国においては、ブレインツリー社が第II相臨床試験をスキップして第III相臨床試験を実施しており、2024年に承認申請、2025年に販売開始を予定している。

日本では同社が早期上市を目指して導出候補先と交渉を進めており、2023年中の導出に向けて、製造販売を視野に入れた協議を行っている。第II・III相臨床試験については海外データを活用した迅速かつ効率的な臨床開発を行う計画である。

テゴプラザンのグローバル展開状況

国・地域	導出先*	販売・開発状況	市場規模 (百万円)
韓国	HKイノエン社	2019年発売、シェア1位を維持	100,000
中国	Luoxin社	2022年4月発売	410,000
フィリピン	MPPI社	2022年10月発売	8,000
モンゴル	Monos社	2022年10月発売	-
メキシコ	Camot社	2023年5月発売	57,000 ²
インドネシア	Katbe社	2023年7月発売	20,000
シンガポール	UITC社	2023年9月発売	1,600
ペルー	Camot社	2023年中に発売予定	57,000 ²
タイ、ベトナム、マレーシア	Pond's社、Lynh farma社、Pharmaniaga社	承認審査中	27,000
アルゼンチンなど中南米15カ国	Camot社	承認審査中	57,000 ²
インドなど7カ国	Dr.Reddy社	申請・開発準備中	130,000
ブラジル	Eurofarma社	申請準備中	80,000
米国	Braintree社	P3臨床試験中・2025年発売予定	370,000

出所：会社資料よりSR社作成（2023年9月時点）

* 導出先はHKイノエン社からのサブライセンス先を含む

² 市場規模57,000百万円は、メキシコ、アルゼンチン、ペルーなど中南米17カ国の合計

導出済パイプラインの状況

導出済プログラムについては、導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

サブライセンス先のOCT社が第Ⅰ相臨床試験を開始

当第2四半期累計期間においては、同社が株式会社AskAt（非上場、以下、AskAt社）に導出し、AskAt社からOxford Cannabinoid Technologies Ltd.（OCTP、LSE、以下、OCT社）にライセンスされたカンナビノイドCB2受容体作動薬（RQ-00202730/AAT-730/OCT461201）について、OCT社が英国の規制当局および倫理審査委員会から、第Ⅰ相臨床試験実施に係る承認を取得した。OCT社は化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）を主な適応症としてCB2作動薬の臨床開発を進める計画で、2023年7月に被験者への投与を開始した。OCT社は、2023年12月期第3四半期に第Ⅰ相臨床試験結果の取得を予定している。

同社によれば、CIPNはある種の抗がん剤の副作用として発症し、痛みやしびれの症状により生活の質が低下するとされる。ヒトの体内にはCB1とCB2というカンナビノイド受容体が存在するが、CB1への作用は、行動や精神などへの中枢神経系副作用のリスクがある。一方で、CB2は疼痛・炎症性疾患・がんなどの治療薬の標的として注目されており、同社のCB2作動薬は、CB2選択的に作用する化合物であることから、CB1を介した副作用を回避し、忍容性の高い治療薬になることが期待されている。CIPNの世界の市場規模は1,610百万米ドル（約225,000百万円、1ドル140円換算）で、2027年には2,370百万米ドル（約330,000百万円、同）に増加すると予測されている。

動物薬に関するオプションおよびライセンス契約の締結

2023年4月には、同社が創製した5-HT₄作動薬（化合物コード：RQ-00000010、以下、RQ-10）について、フランスのVetbiolix SAS（非上場、以下、Vetbiolix社）との間で、ペット用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を締結した。この契約に基づき、同社はVetbiolix社に対してRQ-10を含有する動物用医薬品の開発、製造および販売に関する、独占的かつ全世界を対象としたサブライセンス可能なライセンスに関する独占的オプションを付与する。Vetbiolix社により独占的オプションが行使された時点で、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受け、また開発の進捗に応じたマイルストーンおよび販売ロイヤリティなどを受け取る権利を取得する。

導出準備パイプラインの状況

導出準備プログラムは、日本国内におけるテゴプラザンの速やかな上市を目指し、ライセンス先候補企業との協議を進めている。また、大型のライセンス契約の獲得を目指し、自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬については、さまざまな前臨床試験を実施しているほか、2024年12月期の臨床試験開始を目指して、臨床試験用原薬の製造も行っている。その他の導出準備プログラムについても、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせ、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

自社研究開発の進展

探索研究段階では、新たな開発化合物の創出に向けた探索研究プログラムに注力しているほか、創業研究基盤の強化に取り組んでいる。既存技術と新たな取り組みの相乗効果により次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、2022年からスタートアップや創薬ベンチャーとの連携を強化している。当第2四半期累計期間においては、スイスのleadXpro AG（非上場、以下、leadXpro社）と協業を開始した。leadXpro社との協業で、膜たんぱく質の3次元立体構造解析により、イオンチャネルを対象とした創薬プロジェクトの加速を目的としている。なお、2019年7月から行っていたあすか製薬社との共同研究については、双方の合意により終了した。

タミバロテンの状況

タミバロテンはレチノイン酸受容体のαサブタイプであるRARαの選択的作動薬で、同社はRARαをバイオマーカーとしたプレジジョン・メディシン*の新薬承認を目指している。連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出し、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が米国で進められている。

*プレジジョン・メディシンとは「がんゲノム医療」とも呼ばれ、遺伝子レベルでがんを解析し、そのがんにあった最適な治療を行う先端医療のこと。がん領域が一番進んでいるが、あらゆる病気が対象とされる。

MDSとAMLの患者におけるRARαの発現量を解析すると、MDSの約50%、AMLの約30%で高い数値となっている。抗がん剤とタミバロテンを併用することにより、タミバロテンがRARαに結合して抗がん剤の効果を増強し、より効率的にがん細胞を細胞死へ招くことで抗腫瘍効果が発揮されることが期待されている。タミバロテンとがん治療薬の併用療法については、2023年7月に日本における用途に関する特許査定が行われた。

シロス社では米国においてAMLの第Ⅱ相臨床試験を実施中で、2023年第4四半期に無作為化試験パートの結果発表を予定している。また、米国におけるMDSの第Ⅲ相臨床試験については、2024年第3四半期に結果を発表、2024年中に承

認申請を予定している。当第2四半期において、同社はシロス社から臨床開発の実施に伴い発生する手数料を受領した。

タミバロテンは2023年1月、米国食品医薬局（Food and Drug Administration、以下、FDA）から高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象とした、ファストトラック指定を受けた。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換をより頻繁に行うことができ、さらに臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速審査の対象となる可能性がある。

このほか、名古屋大学を代表機関とする、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の臨床研究・治験推進研究事業として、膵がん、尿路上皮がんに対する臨床研究・医師主導治験が2023年3月から進行中である。

2023年12月期通期見通し

(百万円)	21年12月期			22年12月期			23年12月期		
	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期会予	通期会予
事業収益	1,321	1,456	2,776	1,447	1,471	2,918	1,014	1,785	2,799
前年同期比	254.3%	98.2%	150.7%	9.6%	1.1%	5.1%	-29.9%	21.4%	-4.1%
事業費用	1,006	1,063	2,068	896	1,156	2,052	1,037	1,501	2,538
前年同期比	29.6%	30.0%	29.8%	-10.9%	8.8%	-0.8%	15.8%	29.8%	23.7%
売上原価	175	146	321	105	127	232	122	111	233
前年同期比	201.8%	82.1%	132.4%	-40.2%	-12.9%	-27.8%	16.9%	-12.8%	0.6%
研究開発費	497	631	1,127	528	720	1,249	603	1,071	1,674
前年同期比	10.2%	30.9%	20.9%	6.4%	14.2%	10.8%	14.2%	48.6%	34.1%
研究開発費比率	37.6%	43.3%	40.6%	36.5%	49.0%	42.8%	59.5%	60.0%	59.8%
販売費及び一般管理費	334	286	620	263	309	572	312	319	631
前年同期比	24.9%	12.0%	18.6%	-21.4%	8.0%	-7.9%	18.7%	3.4%	10.4%
販管費比率	25.3%	19.6%	22.3%	18.2%	21.0%	19.6%	30.8%	17.9%	22.5%
営業利益	315	393	708	551	315	866	-23	283	260
前年同期比	-	-	-	75.1%	-19.9%	22.4%	-	-10.0%	-70.0%
営業利益率	23.8%	27.0%	25.5%	38.1%	21.4%	29.7%	-2.3%	15.9%	9.3%
経常利益	433	431	864	681	223	904	37	205	242
前年同期比	-	-	-	57.4%	-48.2%	4.7%	-94.6%	-8.0%	-73.2%
経常利益率	32.8%	29.6%	31.1%	47.1%	15.2%	31.0%	3.6%	11.5%	8.6%
当期純利益	303	453	756	469	254	723	25	158	183
前年同期比	-	-	-	55.0%	-43.9%	-4.3%	-94.6%	-38.0%	-74.7%
純利益率	22.9%	31.1%	27.2%	32.4%	17.3%	24.8%	2.5%	8.8%	6.5%

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2023年12月期通期（2023年1月～12月）会社予想（2023年2月14日発表）

- 事業収益：2,799百万円（前期比4.1%減）
- 営業利益：260百万円（同70.0%減）
- 経常利益：242百万円（同73.2%減）
- 親会社株主に帰属する当期純利益：183百万円（同74.7%減）
- 想定為替レート（米ドル/日本円）：125.0円（前期は134.25円）

2023年12月期は設備投資や開発費の増加により事業費用は2,538百万円（前期比23.7%増）に増加する計画であるが、同社は安定的な事業収益により、3期連続の営業黒字を確保するとしている。第2四半期決算発表時点で、業績予想に変更はない。2023年1月～6月の中国の販売に関するロイヤルティは、第3四半期に半年分が計上される予定である。

四半期業績推移（累計）	22年12月期				23年12月期		23年12月期	
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	進捗率	会予
事業収益	339	1,447	1,904	2,918	370	1,014	36.2%	2,799
前年同期比	-48.3%	9.6%	17.3%	5.1%	9.2%	-29.9%		0.8%
ロイヤルティ	184	698	1,083	1,487	350			
前年同期比	35.3%	43.0%	69.2%	-	90.2%			
構成比	54.2%	48.2%	56.9%	51.0%	94.5%			
その他（契約一時金・マイルストーン）	155	748	820	1,431	20			
前年同期比	-70.2%	-10.1%	-16.6%	-	-87.1%			
構成比	45.7%	51.7%	43.1%	49.0%	5.4%			
研究開発費	264	528	840	1,249	268	603	36.0%	1,674
前年同期比	3.0%	6.4%	7.6%	10.8%	1.7%	14.2%		34.1%
研究	255	482	761	1,024	219			1,362
前年同期比	-	-	-	-	-14.1%			33.0%
構成比	96.7%	91.2%	90.6%	82.0%	81.6%			
開発	8	46	79	225	49			312
前年同期比	-	-	-	-	512.5%			38.7%
構成比	3.0%	8.7%	9.4%	18.0%	18.3%			

出所：会社資料よりSR社作成

期初予想の前提

2023年12月期の事業収益について、胃食道逆流症治療薬「tegoprazan」、犬の変形関節症治療薬「GALLIPRANT®」、犬の食欲不振症治療薬「ENTYCE®」の販売が順調に推移すると同社はみている。上市品4品目からの販売ロイヤルティ

に加え、新たなライセンス契約の締結による一時金収入および開発の進捗に伴うマイルストーン収入を同社は見込んでいる。日本におけるテゴプラザンの開発については、臨床薬理試験を行わず早期に導出する方針に変更して1~2社の製薬企業との提携交渉中である。治験デザインなど詳細な条件について協議・検討しているため、契約締結の時期については保守的にみており、2023年12月期第4四半期に契約一時金を見込んでいる。

主な減収要因は、2022年12月期に前倒して計上された、P2X7受容体拮抗薬に係るマイルストーン収入4百万米ドル（500百万円、1米ドル125円換算）である。2022年12月期の業績修正前に達成確率を勘案して2022年12月期と2023年12月期に250百万円ずつ事業収益に織り込んでいた、同社の想定より早い2022年11月に第II相臨床試験が開始されたことによりマイルストーンを達成し、2022年12月期に全額を計上した。リリー社のパイプライン上では、P2X7は3本の第II相臨床試験が進行中であり、2023年6月から10月に終了予定となっている。

2022年4月には中国で、Luoxin社がテゴプラザン（商品名：泰欣贊®（タイシンザン））の販売を開始し、2023年12月期の事業収益予想には、テゴプラザンの中国におけるロイヤリティ収入を一部含んでいる。モンゴルにおいてもHKイノエン社のサブライセンス先であるMonos Pharma LLC（非上場、以下、Monos社）がテゴプラザンの承認を取得し、販売開始に向けて商品供給が開始され、販売準備中である。また、2022年5月には、HKイノエン社のサブライセンス先であるMetro Pharma Philippines, Inc.（非上場、以下、Metro社）が、フィリピンで承認を取得し、同じく販売準備中である。さらに、インドネシアにおいても同年10月、非びらん性胃食道逆流症を適応症として販売承認を取得した。メキシコにおいては、2023年5月に販売を開始した。

HKイノエン社はヨーロッパなど他地域への進出も計画しており、まだ成長過程にある。ただし、これらのテゴプラザンの販売ロイヤリティについては、すべてHKイノエン社のサブライセンス先であることから、受領までのタイムラグが発生するため、本格的な収益への貢献は2024年12月期以降になる、とSR社ではみている。

第1四半期にサブライセンス先のOCT社が行ったCB2作動薬の第1相臨床試験実施に係る治験申請については、第2四半期（2023年5月）に英国医薬品庁（MHRA）および倫理審査委員会（REC）から、臨床試験実施の承諾を得た。本試験は化学療法誘発性末梢神経障害（以下、CIPN）を主な適応症とし、CB2作動薬がヒトに初めて投与される試験で、近日中に被験者に初回の投与が行われる見通しである。OCT社は、第1相臨床試験の終了見込み時期を2023年第3四半期としている。OCT社によれば、CIPNのグローバルの市場規模は2020年において16.1億米ドル（約201,000百万円、1米ドル125円換算）であり、2027年には23.7億米ドル（約296,000百万円、同）に達すると予測されている。

減収要因は研究開発費の増加

今期減収を見込んでいるのは、研究開発費を1,674百万円（前期比34.1%増）に増加するためである。グレリン受容体作動薬の前臨床試験および臨床試験準備などで312百万円を投資し、開発候補化合物の創出と新領域・新技術の開拓のため、1,362百万円を投資する計画である。同社は成長ドライバーとして創薬技術を獲得すべく、2022年からスタートアップやベンチャー企業との協業を進めており、M&Aを含めた戦略投資を行っていく考えである。

新たなライセンス契約を締結

同社は2023年4月、同社が創製した5-HT₄作動薬（化合物コード：RQ-00000010、以下、RQ-10）について、フランスのVetbiolix SAS（非上場、以下、Vetbiolix社）との間で、ペット用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を締結した。この契約に基づき、同社はVetbiolix社に対してRQ-10を含有する動物用医薬品の開発、製造および販売に関する、独占的かつ全世界を対象としたサブライセンス可能なライセンスに関する独占的オプションを付与する。この独占的オプションは最長24カ月存続し、その間Vetbiolix社はRQ-10を用いて犬・猫の腸管運動障害を対象としたペット用医薬品としてのコンセプト立証に関する研究活動を行う。

Vetbiolix社により独占的オプションが行使された時点で、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受け、また開発の進捗に応じたマイルストーンおよび販売ロイヤリティなどを受け取る権利を取得する。同社によれば、本件による2023年12月期通期業績への影響は軽微である。

過去の期初会社予想と実績の差異

期初会社予想と実績 (百万円)	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
事業収益 (期初予想)	1,014	300	600	950	1,100	1,388	2,022	2,129	2,738	2,605
事業収益 (実績)	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776	2,918
期初会社予想と実績の差異	-77.5%	-48.7%	-75.8%	-25.8%	29.0%	-46.4%	-15.8%	-48.0%	1.4%	12.0%
営業利益 (期初予想)	-1,082	-1,684	-1,395	-819	-760	-698	187	70	420	420
営業利益 (実績)	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708	866
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-	-	68.5%	106.2%
経常利益 (期初予想)	-1,071	-1,685	-1,415	-819	-761	-680	195	85	427	420
経常利益 (実績)	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864	904
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-88.9%	-	102.3%	115.3%
当期純利益 (期初予想)	-1,075	-282	-1,661	-825	-767	-686	153	13	343	342
当期純利益 (実績)	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756	723
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-96.5%	-	120.3%	111.5%

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2020年12月期まで、同社の実績は期初予想を大きく下回る結果となっていた。同社の新経営陣は、下方修正を行わないよう、慎重な業績予想を発表する方針である。

2021年12月期には、2008年の創業以来初めて営業黒字となった。上市品4品目（tegoprazan（テゴプラザン、K-CAB®）、GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®）の販売が堅調に推移し、ロイヤルティ収入が好調だったことに加え、導出済プログラムからはマイルストーン収入と新たなライセンス契約締結による一時金を受領したことが背景。経常利益と当期純利益において期初予想と実績の差が大きいのは、円安により146百万円の為替差益を計上したためである。

2022年12月期は、上市品4品目からのロイヤルティ収入の増加に加え、導出済プログラムからはP2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入とペット用医薬品用途の新たなライセンス契約締結による一時金を受領、円安効果もあり2期連続の営業黒字を達成した。

中期事業計画（2023年12月期～2025年12月期）

(百万円)	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期	23年12月期	24年12月期	25年12月期	3年間 CAGR
	連結	連結	前計画	前計画	会予	目標	目標	
事業収益	2,776	2,918	2,957	3,752	2,799	2,966	4,185	
前年比	150.7%	5.1%	-3.6%	26.9%	-4.1%	6.0%	41.1%	12.8%
事業費用	2,068	2,052	2,691	2,504	2,538	2,657	2,860	
前年比	29.8%	-0.8%	0.6%	-6.9%	23.7%	4.7%	7.6%	11.7%
事業費比率	74.5%	70.3%	91.0%	66.7%	90.7%	89.6%	68.3%	
営業利益	708	866	266	1,248	260	309	1,325	
前年比	-	22.4%	-32.3%	369.2%	-70.0%	18.8%	328.8%	15.2%
営業利益率	25.5%	29.7%	9.0%	33.3%	9.3%	10.4%	31.7%	
経常利益	864	904	256	1,238	242	317	1,330	
前年比	-	4.7%	-36.5%	383.6%	-73.2%	31.0%	319.6%	13.7%
経常利益率	31.1%	31.0%	8.7%	33.0%	8.6%	10.7%	31.8%	
当期純利益	756	723	204	990	183	248	1,166	
前年比	-	-4.3%	-37.6%	385.3%	-74.7%	35.5%	370.2%	17.2%
当期純利益率	27.2%	24.8%	6.9%	26.4%	6.5%	8.4%	27.9%	
EBITDA	849	1,013			464	584	1,582	
前年比	-	19.3%			-54.2%	25.9%	170.9%	16.0%
為替想定 (米ドル円)	110.00	134.24	135.00	135.00	125.00	125.00	125.00	

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。前計画は、2022年11月17日付。

3期連続黒字化達成を目指す

同社は2022年12月期の決算発表と同時に、2023年12月期から2025年12月期までの3年間の中期経営計画を発表した。最終年度の目標は、事業収益4,185百万円（3年間CAGR12.8%）、営業利益1,325百万円（同15.2%）、経常利益1,330百万円（同13.7%）、当期純利益1,166百万円（同17.2%）。中長期的な成長に向けて設備投資や開発費の増加を見込んでいるが、安定的な事業収益により3期連続の営業黒字確保を目指す。想定為替レートは、1米ドル125.00円。

前中期経営計画達成状況と今後の計画

	2022年12月期から3年間の事業目標	2022年12月期末の達成状況	今後の計画
収益	2024年12月期までの3期黒字 3期累計事業収益8,900百万円	2022年12月期事業収益2,918百万円、営業利益866百万円	継続
研究	2024年12月期までに開発候補化合物1個創出	実施中	継続
開発	2023年12月期にグレリン受容体作動薬前臨床試験終了 2023年12月期に日本でのテゴプラザン臨床薬理試験終了	実施中 PMDA相談と導出活動を実施	方針転換 方針転換
導出	導出準備プログラムから毎年1件導出	未達（導出なし）	継続

出所：会社資料よりSR社作成

新事業計画のポイント

- ロイヤルティ収入の増加：テゴブラザンのグローバル成長が業績をけん引し、ペット用医薬品も堅調に推移。
- 日本におけるテゴブラザン：自社開発後に導出するという計画を変更。現段階で製薬企業と提携し、後期臨床試験の開始を早め、最速の製品上市を目指す。
- グレリン受容体作動薬：自社で第Ⅰ相臨床試験を実施し、プログラムの価値を高めて将来の収益を増やす。
- 成長投資：将来の成長性確保には研究開発の加速が必須であるとして、3期連続の営業黒字を維持しつつ、資金調達で得た資金を合わせて創薬研究機能の強化とパイプライン増強への投資を拡大。

事業収益の見込：3期累計9,900百万円

- ▶ 2023年12月期：テゴブラザンおよび動物薬の売上が順調に推移し、ロイヤルティ収入が増加すると予想。その他、テゴブラザンの日本における契約一時金、マイルストーン収入などで合計2,799百万円を見込む。
- ▶ 2024年12月期：中国におけるテゴブラザンの売上が伸長し、動物薬の売上也堅調に推移すると想定。販売ロイヤルティ、導出済プログラムのマイルストーンや契約一時金などで合計2,966百万円を見込む。
- ▶ 2025年12月期：テゴブラザンのグローバル売上がさらに伸長し、動物薬の売上也堅調に推移すると想定。販売ロイヤルティ、契約一時金およびマイルストーン収入などで合計4,185百万円を見込む。

3年間の研究開発費の概要

- ▶ 2023年12月期：開発化合物の創出と創薬研究体制強化のため、1,362百万円（前期比33.0%増）を研究に投資し、開発ではグレリン受容体作動薬の前臨床試験および臨床試験準備などで312百万円（同38.7%増）。
- ▶ 2024年12月期：前年と同水準の1,420百万円（前期比4.3%増）を投じて、開発化合物の創出と創薬研究体制強化に取り組む。開発では、グレリン受容体作動薬の臨床試験費用などで298百万円（同4.5%減）を投資する。
- ▶ 2025年12月期：新規モダリティの基盤技術化・開発化合物の創出に向けて研究費1,455百万円（前期比2.5%増）を投資。開発では、グレリン受容体作動薬と新たな開発化合物の自社開発などで518百万円（同73.8%増）。

グレリン受容体作動薬、テゴブラザンともに開発計画は方針転換

同社はテゴブラザンの自社開発方針を転換し、現段階で製薬企業と提携することで後期臨床試験の開始を早め、最速の製品上市を目指すこととした。グレリン受容体作動薬については、その価値を向上させるため、第Ⅰ相臨床試験を開始する方針とした。グレリン受容体作動薬の前臨床試験の終了は2023年12月期、臨床試験の開始は2024年12月期を計画している。

同社は、新薬上市の成功確率と期待収益を高めるため、グレリン受容体作動薬（RQ-00433412）の開発を自社で進め、テゴブラザンを含む以下の4つのプログラムについては、導出活動に注力する方針である。

自社開発プログラム

- ▶ グレリン受容体作動薬（RQ-00433412）：2023年末までに前臨床試験を完了、2024年末までに第Ⅰ相臨床試験を開始

現在の開発ステージでの導出を目指すプログラム

- ▶ テゴブラザン：1～2社の製薬企業と提携交渉中
- ▶ 5-HT4部分作動薬（RQ-00000010、RQ-10）：第Ⅰ相臨床試験終了
- ▶ 5-HT2B拮抗薬（RQ-00310941、RQ-941）：第Ⅰ相臨床試験終了
- ▶ モチリン受容体作動薬（RQ-00201894、RQ-894）：前臨床試験終了

導出：毎年1件の新規導出契約締結

2021年12月期は、下期に2件の導出に成功した。2022年12月期は、6本の導出準備プログラムの中で交渉が進んでいたものの、契約には至らなかった。2023年12月以降も、毎年1件コンスタントに導出を行う方針である。

事業内容

ビジネスモデルの概要

ファイザーの日本法人中央研究所が前身

同社は、主に低分子化合物に係る探索研究により新薬の「種」、シーズを創製し、製薬会社などに開発権や販売権を導出する研究開発特化型企業である。2021年の医薬品売上高世界1位の製薬会社であるファイザー社は、2007年に行った全世界の研究再編の一環として、日本法人中央研究所の閉鎖を決定した。これを受けて中央研究所はEBOにより独立し、2008年7月に同社が創設された。創設当時はファイザー社が同社の株式19%を有していたが、IPOのあと売却され、2022年12月期末時点では同社の株式の約3.5%をファイザー社が保有する。

ファイザー社からは6つの探索プログラム、6つの開発プログラムのほか、アメリカで承認され上市されていた3製品、ジオドン®（ジブラシドン）、ダルバンス®（ダルババンシン）、エラキシス®（アニデュラファンギン）の日本における権利を譲受*した。当時開発中であったテゴブラザン、GALLIPRANT®（グラビプラント）は同社が開発を続けて既に上市済みであり、現在進行している導出済プログラムと導出準備プログラムの中にも、開発段階やテーマとしてファイザー社から譲受したものが含まれている。

*同社が現在進めているパイプラインのうち、ファイザー社から譲受したプログラムは、候補化合物が決まっていない研究段階のものを含め、カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（テゴブラザン）、EP4拮抗薬（グラビプラント）、グレリン受容体作動薬（カプロモレリン）、5-HT₄、CB2、5-HT_{2B}など。2007年当時ファイザー社が消化器疾患から撤退する判断をした結果として同社が引き継いだ「テゴブラザン」に、価値があるとこだわって開発してきたことが、同社の成長の要となっている。

同社の事業領域

探索研究から初期臨床開発までが同社の創業ステージ

同社は先端科学技術を活用し、医療分野においてニーズの高い疾患領域に対する新たな医薬品を生み出すことを目指す研究開発型の創業企業である。同社は創薬標的分子の探索研究から初期臨床開発段階までを、同社が行う創業ステージと捉えている。基本的に同社が行う開発プロセスを、有効性および安全性が概ね評価可能となる前期臨床（第II相）試験までとすることで、研究開発に係る費用およびリスク負担の低減を図っている。2021年3月から新しい経営体制となり、従来疼痛・消化器中心だった疾患領域を、神経疾患へ拡大した。今後はアンメットメディカルニーズが大きい神経変性疾患、遺伝病、希少疾患などを重点領域として、恒常的に新薬を創出する方針である。

神経疾患について：同社が新たに疾患領域に加えた神経疾患とは、脳・脊髄・神経が侵される病気である。神経は非常に多くの身体機能を制御しているため、該当する症状は多岐に亘る。代表的な疾患としては、脳血管障害、アルツハイマー型認知症、てんかん、パーキンソン病などで、片頭痛や緊張性頭痛なども含まれる。

医薬品の開発プロセス

一般的な医薬品の研究開発は、薬のもととなる新規化合物（シーズ）の探索を行う「基礎研究」、実験動物などを用いて探索した化合物の有効性や安全性の研究を行う「非臨床試験」、健常者や患者などヒトへの投与によって有効性や安全性のテストを行う「臨床試験（治験）」がある。第I相臨床試験（フェーズ1）では、少数の健康な人を対象に、副作用などの安全性を確認する。第II相臨床試験（フェーズ2）では、少数の患者を対象に、有効な投薬量や投薬方法の確認・決定を行う。第III相臨床試験（フェーズ3）では、多数の患者を対象に、有効性と安全性を既存薬と比較する。

医薬品開発に要する期間と成功確率

医薬品として販売するには、その品質、有効性、および安全性にかかる莫大な試験データに基づいて各国の規制当局に承認申請を行う。専門家による審査を経て、承認されて医薬品として販売できる。その過程では、およそ10年から15年にわたる長期の研究開発期間と、数百億円から数千億円に上る費用が必要となる。長期の研究開発の中では、事業環境の変化や期待通りのデータが得られないなど、開発を中止せざるを得ないリスクも生じ、すべての開発パイプライン

ンが成功に至るわけではない。日本製薬工業協会によれば、成功確率は20年前が13千分の1、現在は23千分の1と年々低下しており、医薬品開発の難易度は上昇している。

一般的な創薬プロセスと同社の事業領域

研究	プロセス	期間	内容	同社の事業領域
開発	探索研究（基礎研究）	3年～5年	治療コンセプトの立案、化合物の合成・評価など	○
	前臨床試験（非臨床試験）	2年～3年	主に動物を用いた有効性・安全性の評価	○
	臨床試験 第I相（フェーズ1）	3年～7年	ヒトでの有効性・安全性の評価	○
	臨床試験 第II相（フェーズ2）			
	臨床試験 第III相（フェーズ3）			
承認・申請	約1年	申請および規制当局による審査		
販売開始まで		合計9年～16年		

出所：会社資料よりSR社作成

新薬の成功確率

	2000～2004	2005～2009	2010-2014	2015～2019
前臨床試験開始	1：2,158	1：3,213	1：3,748	1：3,740
臨床試験開始	1：3,653	1：8,698	1：9,622	1：10,301
承認取得（自社）	1：12,888	1：31,064	1：24,553	1：22,749
承認取得数（自社）		36	21	29

出所：厚生労働省「医薬品産業ビジョン2021」よりSR社作成

同社の創薬モダリティ（創薬手法）

低分子医薬の開発

同社は主に低分子化合物に係る研究開発を行っており、同社のパイプラインは2022年12月期現在、すべて低分子化合物による開発品である。同社は、2021年の医薬品売上高世界1位の製薬会社である米国ファイザー社の日本法人中央研究所からEBOにより独立し、2008年の創設時にはファイザー社の研究機器などを譲受したほか、研究中のプログラムについても引き継いでいる。そのため、同社は創設から2年弱で、カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（テゴブラザン）の導出に成功した。

化合物の合成・デザインに注力してきたファイザー社のノウハウにより、同社は週に100～150化合物を合成して実験を行っている。同社は、研究・開発・評価に使用するすべての化合物に対して、8ケタの00000001から始まる化合物コードを付与している。この化合物コードの桁数からも、同社が大量なデータによって、新薬の種をゼロから見つける探索研究を続けていることがうかがえる。同社が日常的に使用する化合物のデータベースの規模は80万程度で、スクリーニングに使用するののうち30万化合物程度のライブラリーである。

世界最速の研究サイクル：2週間

同社は前述の膨大な数の化合物ライブラリーから、SCARA（Selective Compliance Assembly Robot Arm）ロボットシステムを使用することにより、1日に1万化合物の評価を行うことが可能である。新薬の種となる新規化合物は、多次元のデータを解析し、経験則および計算科学的手法に基づいてデザインされ、蓄積されたノウハウを基に効率的な合成計画を立案して合成される。同社の化学者によって合成された、不純物を含む合成サンプルは、精製、秤量、溶解、分注の各工程を自動化したCAP（Centralized Analysis & Purification）により、純度を保証された溶液サンプルとして薬理評価者に速やかに供給される。同社によれば、CAPを使用した場合、化学者が手動で生成を実施する場合と比較して、SCARAロボットシステムを使用した場合には約10倍の効率化を実現し、週に200化合物の供給を可能にしている。

化合物に関するすべての情報を二次元バーコードで管理し、データベース化することでSAR*（構造活性相関）研究を推進している。バーコードで管理された384穴プレートを用いて、ロボットシステムにより正確で迅速な薬理・安全性・代謝試験などが実施され、結果は速やかにデータベースに登録されてデザイン・合成担当者に報告される。上記の研究サイクルは2週間で、同社によれば世界最速の水準である。

*SAR（Structure-activity-Relationships：構造活性相関）とは、化学物質の構造と生物学的（薬学的あるいは毒性学的）な活性との間に成り立つ統計学的な関係性のこと。創薬を行う過程では、研究者が構造的に類似した化合物の薬効について予測することを目的とした研究を行っている。

特許期間のマネジメント

数百件の保有特許の長期化を図る

同社は継続的に基本特許（物質特許）を出願して世界の主要国において権利化を行っており、地域や有効期限はそれぞれ違うものの、最長で2040年前後まで有効な数百の特許を保有している。基本特許の出願後は、特許の延長や周辺特許の出願により、創製した化合物に関する特許の有効期間の延長を図っている。物質特許の有効期間は20年間であるが、特許期間延長により最長5年間、用途特許や製法特許など周辺特許の出願によりさらに20年間の独占排他権の維持が可能となる。もとはファイザー社が出願した特許についても、特許期間の延長と周辺特許の出願によって2030年代半ばまでは特許期間が継続している。新薬の基本特許が切れた後でも、同じ成分、同じ効能・効果を持ち、新薬より安価であるジェネリック医薬品が販売される時期を遅らせることで、長期にわたる収益の確保を図っている。

医薬品関連特許の例

特許	対象	例
物質特許	物質の構造のみ	「化学式XX」で示される化合物
製法特許	物質の製造方法	物質Aと物質Bを反応させて物質Cを製造する方法
用途特許	使用用途や対象疾患	物質Aを含有する特定の疾患の治療剤
用法用量特許	使用方法や使用料	1回あたりXXmgを1日X回投与する
製剤特許	製剤技術	物質A、崩壊剤B、結合剤Cを含有する圧縮固形製剤
配合剤特許・併用特許	複数の有効成分	物質Aと物質Bを含有する医薬組成物
結晶特許	物質の結晶型	物質Aの結晶（回折角の定義）

出所：日本ジェネリック製薬協会の資料よりSR社作成

経営陣の刷新と新たな取り組み

2021年3月に開催された定時株主総会において、同社の株を11%保有していた筆頭株主の柿沼祐一氏（現・同社取締役）により経営陣刷新を求めた株主提案が、約85%の個人株主の賛同を得て圧倒的多数により可決された。柿沼氏が問題視していたのは、2019年12月期から3期連続で期初予想を下方修正したこと、既存パイプラインの開発をストップさせていたこと、新規パイプラインの導出ができないこと、の3点であった。また、2017年に前社長の谷直樹氏が2020年に時価総額1,000億円の達成を公言していたものの、2020年末時点の時価総額は約200億円と大きく下回った。

以下は、2021年3月に経営陣が交代してから、研究・開発・導出について同社が行った主な取り組みである（詳細は非開示）。

研究

- ▶ 次世代の成長：新規モダリティのコンセプト検証
- ▶ 化合物創出の効率化：次世代型の創薬バリューチェーンの構築
- ▶ 領域の拡大：AIを活用した創薬標的や疾患の探索

開発

- ▶ 機能拡充：臨床開発部長の採用
- ▶ 既存プログラムの価値向上：バリューアップの検討 → テゴプラザンとグレリン受容体作動薬の自社開発

導出

- ▶ TRPM8遮断薬 → Xgene社に導出（2021年9月）
- ▶ ナトリウムチャンネル遮断薬 → 久光製薬社に導出（2021年12月）

新経営陣の方針転換による資金需要の増加

同社は従来、非臨床準備段階での導出を目指しており、これまでの導出実績も早期開発段階に行ったパイプラインが多い。しかしながら、早期開発段階ではパイプラインの医薬品としての上市確率が低いため、契約一時金やマイルストーン収入、販売ロイヤルティの料率が低くなる傾向がある。そのため新経営陣は、研究開発中の新薬候補物質の有効性・効果をヒトに投与することによって確認されるPOC（Proof of Concept）までを自社で行い、将来的なパイプラインの価値の向上を図ることにシフトした。POCを確保するには第II相臨床試験まで行う必要があり、従来と比べて多額の研究開発費が必要となる。2023年12月期には2つのプロジェクトで自社開発を進めるため、事業費用は約2割増加

する見通しで、同社はエクイティファイナンスやコミットメントラインなどを組み合わせて資金調達を行うとしている。

新規モダリティへの挑戦

医薬品は化学合成による低分子医薬品と、生物物質を利用したバイオ医薬品に大別される。低分子医薬品は分子が小さく、化学構造式が決まっており、量産化しやすいことから、一般的に低分子医薬品のほうが製造コストを安価に抑えられる。バイオ医薬品は有効成分が成長ホルモン、インスリン、抗体などのタンパク質由来の医薬品で、細胞、酵母、細菌などから製造される。バイオ医薬品の分子は大きくて複雑であり、その特性や性質は製造工程に依存するため、コストが高くなる。そのため新薬として上市される際にはバイオ医薬品のほうが高価になる傾向があり、市場規模も大きくなる。

新規医薬品が厚生労働省によって薬価収載される際、新しく開発された医療用医薬品の価格は、既に使用されて似た効き目を持つ薬剤の価格と比較して決められる（類似薬効比較方式）。比較してより高い有効性や新規性が認められれば補正加算され、価格が上乘せられる。似たような薬効を持つ比較対象がない場合には、原材料費や製造費などの原価をもとに価格が決める（原価計算方式）。そのため、先発品と後発品では成分が同じであっても1.5~3.5倍の価格差が発生する。同社が主な疾病領域とする疼痛や消化器系の疾患は、アンメットメディカルニーズが大きい神経変性疾患、遺伝病、希少疾患に比べて既存薬が比較的多く存在することから、上市時点における薬価が低くなり、ロイヤルティ収入も高額になりにくい。

同社は2024年12月までの中期経営計画で、新規モダリティのコンセプト検証を行っている。同社の強みは低分子創薬であり、これまで培ってきた技術やノウハウによって展開が難しいものについては、大学発のスタートアップなどとの提携により、新規モダリティに挑戦する方針である。イオンチャネルに対する構造生物学的なアプローチのため、AIやクラウド連携などの取り組みを行うことも検討している。

スタートアップ・創薬ベンチャーとの協業

AIの活用により難病・希少疾患への適応を探る

2022年5月、ソシウム株式会社（非上場、以下、ソシウム社）との間で、同社が保有する化合物の難病・希少疾患への適応可能性の探索に関する共同研究契約を締結した。ソシウム社の難病・希少疾患プログラムは、難病情報センターに登録されたすべての難病・希少疾患に対して遺伝子発現変動パターンを網羅的に集積しており、化合物の遺伝子発現パターンを基に適応疾患を推定できる。従来の薬理学的作用機序からは予想し得なかった、新たな適応疾患候補を数カ月で見い出すことができ、同社が保有する化合物の価値の最大化に寄与すると同社は考えている。

新規モダリティ（細胞内抗体）でイオンチャネルを制御

2022年8月には、STAND Therapeutics株式会社（非上場、以下、STAND社）との間で、STAND社が保有する技術の創薬応用への可能性を検証することを目的とした契約を締結し、難病・希少疾患治療薬の創製を目指した協業を開始した。疾患治療の標的となる標的分子は細胞内にも多く存在するが、細胞質内で抗体は不安定で凝集するため機能せず、これまでの抗体医薬品は細胞外に限定されていた。STAND社が有する「細胞内で機能する細胞内抗体を作製する技術」によって、抗体に安定化ペプチドタグを融合させることで安定化させ、細胞質内でも凝集せずに治療標的分子にアプローチできる、と同社は考えている。

mRNA標的的低分子化合物で新たな抗がん剤創出を目指す

2022年12月には、株式会社Veritas In Silico（非上場、以下、Veritas In Silico社）との共同研究により、メッセンジャーRNA（以下、mRNA）を標的とした画期的な低分子医薬品の創出に取り組むことを発表した。Veritas In Silico社は、mRNAを標的とする創薬に特化した、独自のプラットフォーム技術を有している。共同研究では、同社が定めるがん疾患に関連する複数の遺伝子を標的として、対応するmRNA上の標的構造の同定から、ハイスループットスクリーニングによるヒット化合物の取得、ヒット化合物の合成展開によるリード化合物の取得、リード化合物最適化による開発候補化合物の取得に至る、複数年の創薬研究を行う。

イオンチャネルを標的とした同社化合物の眼疾患への適応を探る

同社は2022年12月、株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所（東証GRT 4576、以下、DWTI社）と、両社が保有する技術、リソースならびに医薬品研究開発のノウハウを活用し、特定の視神経疾患治療薬の創製に向けた共同研究（探索研究）を実施する、と発表した。同社は自社のイオンチャネル創薬技術を活かして特定のイオンチャネルを標的とした化合物群の合成を担当し、DWTI社は自社の眼科領域での評価技術を活かして、薬効薬理試験などにより化合物群の眼疾患治療薬の可能性を検証する。本共同研究により得られた技術的成果および知的財産権は両社の共有とし、本共同研究終了後も次段階の協業に向けて協議する予定である。

イオンチャネルの構造生物学的解析

同社は2023年4月、創薬難易度の高い膜タンパク質を標的とした創薬研究の加速を目指し、スイスのleadXpro AG（非上場、以下、leadXpro社）と協業を開始した。同社は、膜タンパク質を標的としたイオンチャネル創薬で技術上の強みと開発化合物の実績がある。一方、leadXpro社は、膜タンパク質の構造に基づく創薬に特化したバイオテクノロジー企業で、膜タンパク質の構造生物学やリガンド*設計、生物物理学的特性評価における専門知識を有する。クライオ電子顕微鏡*2をはじめとする構造生物学技術を活用し、リガンドがどのようにタンパク質に結合するかを原子レベルで観察することで、薬物候補の活性向上や選択性改善を狙った論理的な設計が可能となり、創薬研究を加速できると社はみている。

*リガンドとは、特定の受容体に特異的に結合する物質（アミノ酸、タンパク質、低分子化合物など）のこと。特定の疾患に対してターゲットとなる受容体を特定し、リガンドとの相互作用やリガンドによる薬剤の選択的作用などにより、治療効果を発揮する薬剤の開発が行われる。

*2 クライオ電子顕微鏡（Cryogenic電子顕微鏡）とは、液体窒素（-196℃）冷却下でタンパク質などの生体分子に対して電子線を照射し、試料の観察（立体構造解析）を行うための装置。

スタートアップ・創薬ベンチャーの保有技術

	保有技術
ソシウム社	独自の難病・希少疾病データベースとAI創薬プラットフォーム
STAND社	独自技術（STAND技術）で細胞内で抗体を作成し、標的分子にアプローチ
Veritas In Silico社	mRNA上で標的部分構造を見出すインフォマティクス技術
DWTI社	眼科領域の創薬ノウハウ（緑内障治療薬 製品名：グラナテック®）
leadXpro社	クライオ電子顕微鏡などを用いた膜たんぱく質の構造解析技術

出所：会社資料よりSR社作成

収益構造

同社は探索研究により新薬のシーズを創製し、製薬会社などに開発権や販売権を導出することで収益を上げる研究開発特化型企業である。一般的に医薬品の開発段階において得られる収入は、1) 提携契約を締結した時点の「契約一時金」、2) 臨床試験の開始など、パイプラインの進捗に応じた「マイルストーン収入」、3) 共同研究による「研究協力金」であり、提携対象製品の上市後は、4) 売上に応じた「ロイヤルティ収入」である。

同社の収益構造

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。 同社が開発した新薬候補の価値とポテンシャルへの対価。
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。 次相臨床試験の開始や上市など、「新薬候補」を「新薬」にする過程で重要な障壁を超えることにより得られる。
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。 売上高が増加すると段階的に料率が増えるなど、契約条件によって異なる。
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。同社の創薬技術に対する対価。

出所：会社資料よりSR社作成

地域別売上高推移

	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
(百万円)	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
合計	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776	2,918
前年比	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.6%	-35.0%	150.7%	5.1%
米国	88	-	-	646	818	278	761	549	1,004	1,142
前年比	3,726.4%	-	-	-	26.5%	-66.0%	173.8%	-27.8%	82.7%	13.8%
構成比	38.8%	-	-	91.6%	57.6%	37.3%	44.7%	49.6%	36.2%	39.1%
日本	70	131	106	50	471	349	196	28	1,187	742
前年比	162.5%	86.9%	-19.4%	-52.6%	841.1%	-25.8%	-43.7%	-85.9%	4,175.6%	-37.5%
構成比	30.7%	85.0%	72.5%	7.1%	33.2%	46.8%	11.5%	2.5%	42.8%	25.4%
アジア	-	20	40	9	131	121	746	530	585	1,034
前年比	-	-	100.0%	-77.5%	1,355.0%	-7.8%	517.9%	-28.9%	10.3%	76.8%
構成比	-	13.0%	27.5%	1.3%	9.2%	16.2%	43.8%	47.9%	21.1%	35.4%
欧州	50	-	-	-	-	-	-	-	-	-
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
構成比	21.8%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	20	3	-	-	-	-	-	-	-	-
前年比	-	-84.7%	-	-	-	-	-	-	-	-
構成比	8.8%	2.0%	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社資料よりSR社作成

*売上高は顧客の所在地を基礎とし、国または地域に分類

既に4製品が導出先から上市されており、長期的かつ安定的なロイヤルティ収入が同社の主要な財源である。2022年12月期の事業収益2,918百万円のうち、5割強をロイヤルティ収入、4割強を契約一時金やマイルストーン収入が占める。

パイプラインの概要

製薬会社基準の研究プロセスや業務手順に基づく豊富なパイプライン

同社は、前身のファイザー社中央研究所における創薬研究開発のノウハウや手法を受け継ぎ、また引き継いだ研究を継続しており、たくさんのシーズがあることから、次々と候補品を生み出すことができる。製薬企業基準のSOP（Standard Operating Procedures：標準業務手順書）に基づく高い技術力により、イオンチャネルをターゲットとした難度の高い創薬を行って、5本のプロジェクトを早期に導出している。同社は上市済みの4品目（テゴプラザン、GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®）に加え、イオンチャネルを含む導出済プロジェクト12化合物、導出準備プロジェクト6化合物の豊富な開発パイプラインを有している。

また、探索研究段階のパイプラインは2022年2月時点で9プログラムあり、自社だけでなく、あすか製薬株式会社（非上場、あすか製薬ホールディングス株式会社（東証PRM 4886）傘下、以下、あすか製薬社）、インタープロテイン社、長崎大学、岐阜薬科大学との共同研究を行っている。2018年3月には名古屋大学と産学協同研究センター設置契約を締結し、名古屋大学内で薬効解析部門および新薬創成科学部門の2つの協同研究部門を設置した。医薬品候補化合物の創出を目指した研究を行っており、産学連携による創薬の加速化も可能である。

導出済パイプライン（ヒト）

導出済プログラム（ヒト）

プログラム名	一般名・化合物コード	主適応症	実施地域	開発段階
テゴプラザン（カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）K-CAB®）	RQ-00000004（tegoprazan）	胃食道逆流症	韓国	販売中（2019年3月）
			中国	販売中（2022年6月）
			フィリピン	発売中（2022年11月）
			モンゴル	承認取得、販売準備中
			インドネシア	承認取得、販売準備中
			シンガポール	承認取得、販売準備中
			タイ、ベトナム、マレーシア	承認審査中
			メキシコ	承認取得（2023年2月）
			中南米16カ国	承認申請準備中
			米国・カナダ	米国でP3実施中（2022年～）
レチノイン酸受容体α作動薬	タミバロテン TM-411/SY-1425	骨髄異形成症候群（MDS） 急性骨髄性白血病（AML）	米国	P3実施中
EP4拮抗薬	RQ-00000007（grapiprant）	疼痛	米国	P2前期終了
			中国	P1終了
		がん	米国	P1実施中
			中国	P1実施中
5-HT4部分作動薬	RQ-00000009	アルツハイマー病	米国	P1終了
COX-2阻害薬	RQ-00317076	疼痛	米国	P2前期終了
CB2作動薬	非開示	過敏性腸症候群に伴う疼痛	中国	P1実施中
			-	前臨床実施中
選択的ナトリウムチャネル遮断薬	非開示	鎮痛・鎮痒	-	非開示
P2X7受容体拮抗薬	非開示	神経障害性疼痛	-	P2実施中
特定のイオンチャネル	非開示	消化器領域	-	非開示
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	慢性疼痛	-	前臨床準備中
ナトリウムチャネル遮断薬	RQ-00350215	慢性疼痛	-	前臨床準備中

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB（一般名：テゴプラザン）

韓国HKイノエン社に日本以外の権利を導出済

テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD）*を主な適応症とし、既存治療の主流であるプロトンポンプ阻害剤（PPI：Proton Pump Inhibitors）に代わる新薬である。ファイザー社から開発化合物として譲受し、テゴプラザンに関わったメンバーの中で同社に移籍した者が数多くいたため、創業後すぐに前臨床試験を開始した。米国における第1相臨床試験終了時点で、同社は2010年6月、韓国のHKイノエン社と消化器疾患領域における戦略的提携を開始し、同年9月に韓

国、香港を含む中国、台湾地域におけるテゴプラザンの商用化の導出契約を締結した。2019年以降徐々に地域を拡大して、現在は日本を除いた全世界における権利を供与している。

*胃食道逆流症（GERD：Gastroesophageal Reflux Disease）は胃の内容物、特に胃酸が食道内に逆流することによって、胸やけなどの特徴的な症状をもたらす疾患。胸やけや呑酸などの症状があるにもかかわらず、内視鏡で食道粘膜に障害を認めない病態を「非びらん性胃食道逆流症（NERD：Non-erosive Reflux Disease）」という。

武田の「タケキャブ®」が先行

2015年2月に販売された武田薬品工業株式会社（東証PRM 4502、以下、武田薬品社）のポノプラザン（商品名：タケキャブ®）は、カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB：Potassium-Competitive Acid Blocker）とも呼ばれ、既存治療で使用されるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なる作用を持つ薬剤である。PPIが、体内で酸により活性体になってから胃酸の分泌抑制作用を現すのに対し、ポノプラザンは酸による活性化を必要とせず、胃酸を分泌するために必要なカリウムイオンの結合を阻害することで、速やかで有用な胃酸分泌作用を現す（出所：武田薬品工業社）。P-CABは既存のPPIやH2RA（H2ブロッカー：ヒスタミンH2受容体拮抗剤）に置き換えが進み、2021年にタケキャブ®は4.1%の薬価引き下げとなったものの、薬価ベースで111,100百万円（前年比13.5%増）を売り上げて、国内医療用医薬品売上高第3位となった。

韓国ではNo.1シェア

同社が導出したテゴプラザンは、HKイノエン社が2018年7月に韓国における製造販売の承認を獲得し、「K-CAB®」として2019年3月に販売を開始した。K-CAB®の韓国における2022年の販売額（院外処方）は1,252億ウォン（前年比14.2%増、約12,520百万円、1韓国ウォン=0.1円換算）で、2019年からの年平均成長率は61.4%増と好調に推移し、韓国における消化性潰瘍薬市場シェア1位となっている。

韓国で販売中のK-CAB®



出所：HKイノエン社HP

HKイノエン社はK-CAB®の口腔内崩壊錠の製造販売承認を2022年2月に取得、同年5月に販売を開始した。口腔内崩壊錠は錠剤をうまく飲み込めない高齢者や水分摂取制限を受けている場合にも服用できるほか、外出中などで水が飲めない時にも服用できる。服用上の利便性が向上し、対象患者が拡大することでHKイノエン社の収益が増加し、販売ロイヤリティ収入に反映されることを同社は期待している。

2022年7月にはびらん性胃食道逆流症治療後の維持療法にかかる承認を取得し、K-CAB®は韓国で販売されているP-CABの中で最も多くの適応症を持つこととなった。テゴプラザンが韓国において製造販売承認を取得した適応症は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ヘリコバクター・ピロリ菌除菌補助療法、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法、の5つである。また、2023年1月には健康保険給付の適用を受けて、びらん性胃食道逆流症維持療法向けに新製剤が発売された。新製剤のテゴプラザンの含有量は既存の製剤の半量で、治療した状態を維持する。これにより、テゴプラザンは韓国国内で販売されているP-CAB系の胃酸分泌抑制剤の中で、唯一びらん性胃食道逆流症発症時から治療後のすべての段階で使用できる薬剤となった。

テゴプラザンの特徴

胃食道逆流症（GERD）は、胃の内容物、特に胃酸が食道内に逆流することによって、胸やけなどの特徴的の症状をもたらす疾患である。主な自覚症状は胸やけと呑酸*で、特に空腹時や夜間の胸やけを特徴とする。テゴプラザンと既存薬との一番の違いは、酸分泌抑制と効果の立ち上がりの速さである。テゴプラザンの酸分泌抑制能はポノプラザン（商品名タケキャブ®）と同程度で、PPIと比較すると強い。テゴプラザンは、ポノプラザンには適応がないNERD（非びらん性胃食道逆流症）にもPPIと同様に適応している。効果の立ち上がりについては、胃の内部のpH値を指標としている。胃内pH値が4以上に上昇するのに、PPIは胃酸による活性化を必要とするため服用初日の効果は出づらく、ポノプラザンは4時間程度であるが、テゴプラザンは1時間程度である。また、ポノプラザンの使用時にはガストリン*²の値が上がりやすいが、テゴプラザンはポノプラザンと比べてガストリン値は上がりやすく、PPIと同程度である。

*呑酸（どんさん）は、胃の内容物が喉元まで上がって、再び下がることで、口やのどに酸っぱい、あるいは苦い感じがこみあげてくる症状。

*² ガストリンは、主に胃の幽門前庭部の細胞から分泌されるホルモン。正常な状態では食後に一時的に上昇して胃酸の分泌を促す。異常に分泌されて極端な過酸状態になると、長期にわたって血清ガストリン値が長高値で維持されると消化性潰瘍や神経内分泌腫瘍発生のリスクが高まるため、ガストリン値の上昇には注意が必要という報告がなされており、ガストリンが高値になると投薬中止となることがある。

テゴプラザンの販売地域拡大による収益の拡大

ライセンス先のHKイノエン社による販売拡大計画

上市済のヒト向け医薬品であるテゴプラザンは、2010年9月に韓国のHKイノエン社に韓国、香港を含む中国、台湾地域における商用化の導出契約を締結した。その後、徐々に地域を拡大して、2019年以降は日本以外の全世界における権利をHKイノエン社に供与している。同社は2008年の創業時から、ファイザー社の開発プログラムであったテゴプラザンの研究開発を継続し、投資を行ってきたが、HKイノエン社が販売地域をグローバルに拡大する戦略により世界各国で販売承認を取得し始めたことで、2022年12月期以降は長期的な投資回収期に入ると同社は考えている。

2022年4月には、HKイノエン社が米国においてテゴプラザンの第1相臨床試験を完了し、サブライセンス先のBraintree社が米国とカナダにおける承認取得に向けて、2022年11月に第2相試験を開始した。また、2022年4月にHKイノエン社のサブライセンス先であるLuoxin社が、中国当局によるテゴプラザンの承認から、わずか15日で販売を開始した。HKイノエン社は、同年2月にマレーシア国内最大規模の医薬品関連企業、Pharmaniaga Logistics Sdn Bhd（PHARMA 7081、以下、Pharmaniaga社）とマレーシアにおける製剤供給契約を、同年5月にReddy社とインドを含む7カ国のライセンス契約を締結した。

販売地域拡大によりロイヤルティ収入の増加を見込む

2022年5月には、HKイノエン社のサブライセンス先であるMetro社が、びらん性胃食道逆流症をはじめとする4つの適応疾患に対する販売承認をフィリピンで取得、同年11月から販売を開始した。フィリピンにおける消化性潰瘍薬の市場規模は6千万ドル（約7,500百万円）を超え、東南アジアで4番目に大きい市場である。Metro社はフィリピン国内でプロトンポンプ阻害剤（PPI）の販売を成功させた実績があり、消化性潰瘍薬の営業基盤とマーケティングノウハウを有することから、テゴプラザンを速やかに市場に浸透させることができると同社は期待している。

テゴプラザンは2023年3月時点で、韓国、中国、フィリピンで販売されているほか、合計36カ国に進出しており、開発・承認審査中・販売準備中である。モンゴルにおいても承認を取得して製品供給が開始されており、2023年12月期中に発売される予定である。同社によれば、潜在的な消化性潰瘍薬のグローバル市場は2兆円と予測されており、HKイノエン社は2028年までに100カ国への進出を目指している。最も大きな市場は北米の400,000百万円、次いで中国310,000百万円である。前述の通り、米国・カナダではサブライセンス先が次相臨床試験の準備中、中国とフィリピンでは販売が開始され、モンゴルでは販売準備中で、シンガポールとメキシコにおいても承認を取得して2023年中に販売開始を見込んでいる。グローバル市場におけるテゴプラザンの獲得シェアを10%、ロイヤルティ料率5%と仮定すると、同社が受領するロイヤルティ収入は年間10,000百万円と同社は試算している。

同社が受領するロイヤルティの試算

$$\begin{array}{l} \text{グローバル潜在市場規模} \\ 2兆円 \end{array} \times \begin{array}{l} \text{獲得シェア} \\ \text{韓国11\%} \end{array} \times \begin{array}{l} \text{ロイヤルティ料率} \\ \text{一般的に1\sim10\%} \end{array} = \begin{array}{l} \text{同社が受け取る} \\ \text{ロイヤルティの} \\ \text{最大ポテンシャル} \end{array}$$

出所：会社資料よりSR社作成

HKイノエン社の主要国・地域における開発状況と市場規模

国・地域	導出先*	開発段階	発売年（見込）	市場規模*2
韓国	HKイノエン社	販売中	2019年	90,000百万円
中国	Luoxin社	経口剤販売中（注射剤開発中）	2022年5月	410,000百万円
フィリピン	MPP社	販売中	2022年11月	8,000百万円
モンゴル	Monos社	承認取得済・販売準備中	2023年	非開示
インドネシア	Kalbe社	承認取得済・販売準備中	2023年	20,000百万円
シンガポール	UITC社	承認取得済・販売準備中	2023年	
タイ、ベトナム、マレーシア	Pond's社、Lyhn farma社、Pharmaniaga社	承認審査中	—	28,000百万円
メキシコなど中南米17カ国	Carnot社	メキシコ承認済、ほか16カ国では承認審査中	—	210,000百万円
インドなど7カ国	Dr. Reddy社	申請準備中／開発準備中	—	130,000百万円
米国	Braintree社	フェーズ3試験実施中（2022年～）	—	370,000百万円
ブラジル	Eurofarma社	申請準備中	—	80,000百万円

出所：会社よりSR社作成

*導出先は、HKイノエン社のサブライセンス先を含む。

*2市場規模は、HKイノエン社資料（2022年9月）より。換算レートは、1韓国ウォン=0.1円

中国における消化性潰瘍薬の成長可能性

Scientific Reportsによれば、2020年の中国における胃食道逆流症の患者数は人口の4.2%にあたる58百万人で、市場規模は350十億円と推定される。主な治療薬は、従来から胃食道逆流症の治療の主流であるプロトンポンプ阻害薬（PPI）とH2ブロッカー（H2RA）で、1人あたりの医療費は6,000円である。日本や韓国ではP-CABの参入により患者1人あたりの薬剤費がそれぞれ14,000円、20,000円となって市場規模が拡大しており、中国においてもPPIとH2RAに置き換わるにより1人あたりの薬剤費は増加する、と同社はみている。また、食生活の欧米化や高齢化により、胃食道逆流症の患者数自体が増加する傾向にあり、患者の人口比が上がることで市場規模は拡大する可能性が高い。

胃食道逆流症の患者数・消化性潰瘍薬の市場規模

国・地域	患者数（人口比）	市場規模（百万円）	1人あたり治療費	主な治療薬
中国	58百万人（4.2%）	350,000	6,000円	PPI、H2RA
米国	67百万人（21.0%）	450,000	6,700円	PPI、H2RA
韓国	3百万人（5.8%）	60,000	20,000円	PPI、H2RA、P-CAB
日本	17百万人（14.0%）	250,000	14,000円	PPI、H2RA、P-CAB

出所：会社資料よりSR社作成

*換算レートは、1韓国ウォン=0.1円、1中国元=19.6円、1米ドル=125円

中国における販売計画

中国では、Luoxin社が「泰欣贊®（タイシンザン）」という商品名でテゴプラザンを販売している。中国における革新的な医薬品を現す「分類1」での承認を2022年4月13日に取得後、わずか15日後の同年4月28日に販売を開始した。Luoxin社では、中国国内の主要な病院や小売り薬局における販売に加え、オンライン診療によるインターネット販売により、2023年に10億元（約19,600百万円、1中国元=19.6円換算）、中長期的には30億元（約58,800百万円、同）を売上目標としている。同社は2022年12月期第2四半期にマイルストーン収入として300百万円を受領しており、同社は今後の売上に応じたロイヤルティを受け取ることになる。サブライセンス先であるため、HKイノエン社を経由したロイヤルティ収入であり、ロイヤルティの受領には半年程度のタイムラグがあると同社はみている。

EP4拮抗薬（RQ-00000007、grapiprant）

グラピプラントは、ファイザー社が開発中だったEP4拮抗薬で、ペット用医薬品として既に上市済のGALLIPRANT®と同一の化合物である。2013年1月、当時同社の100%子会社であったAskAt社にgrapiprantに関する知的財産権を譲渡するとともに、AskAt社がgrapiprantによって得る収益の一定料率をロイヤルティ収入として同社が受領する権利を取得した。知的財産権の譲渡以降は、AskAt社ががんと疼痛を主な領域として開発を進め、2017年12月にAskAt社は米国のArrys Therapeutics（非上場、Ikena社の子会社、以下、Arrys社）に中国および台湾を除く全世界の権利に係るライセンス契約を締結した。その後、Arrys社から権利を引き継いだIkena社が、臨床開発を行ってきた。

Ikena社は米国において、切除不能または進行性マイクロサテライト安定型大腸がん患者を対象に、2018年10月から第Ⅰ相拡大臨床試験（フェーズ1b）を実施していたが、2022年11月に自社開発を中止し、戦略的な代替計画を検討すると発表した。2023年3月時点でIkena社からAskAt社にライセンスは返還されておらず、代替計画も発表されていないが、Ikena社が別のプログラムにリソースを集中するための中止と同社はみている。grapiprantとキイトルーダ®（ペムプロリズマブ）との併用試験結果は、ヨーロッパ臨床腫瘍学会（ESMO）にて報告される予定。なお、2021年9月に開始された、転移性の炎症性乳がんに対するgrapiprantとハラヴェン®（エリブリン）との併用効果を検討する医師主導治験（テキサス大学MDアンダーソンがんセンター）は継続中である。

また、AskAt社のライセンス先である中国3D Medicines Co., Ltd.（非上場、以下、3D社）が、中国において疼痛を適応症とする第Ⅰ相臨床試験を終了した。同じくAskAt社のライセンス先である中国のNingbo NewBay Medical Technology Development Co., Ltd.（非上場、以下、NewBay社）が、がん領域で第Ⅰ相臨床試験を実施中である。

CB2作動薬（RQ-00202730）

CB2作動薬は、ファイザーからテーマとして譲り受け、同社で創製した化合物である。2015年11月に提携を開始したAskAt社のライセンス先であるOCT社が、2023年1月にはOCT社が英国医薬品庁（MHRA、Medicines Healthcare products Regulatory Agency）および倫理審査委員会（REC、Research Ethics Committee）に対して第Ⅰ相臨床試験にかかる治験申請を行い承認を取得、2023年7月に被験者への投与を開始した。OCT社は化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）を主な適応症としてCB2作動薬の臨床開発を進める計画で、2023年12月期第3四半期にフェーズ1試験結果の取得を予定している。

ヒトの体内にはCB1とCB2というカンナビノイド受容体が存在し、CB1は中枢神経系に、CB2は免疫系に多く発現する。同社によれば、CIPNはある種の抗がん剤の副作用として発症し、痛みやしびれの症状により生活の質が低下する。同社のCB2作動薬はCB2に選択的に作用する化合物であるため、CB1を介した中枢性の副作用の回避が期待されている。CIPNの世界の市場規模は1,610百万米ドル（約225,000百万円、1ドル140円換算）で、2027年には2,370百万米ドル（約330,000百万円、同）に増加すると予測されている。

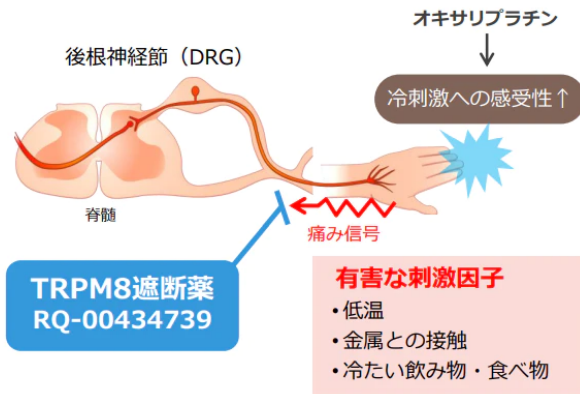
P2X7受容体拮抗薬（RQ-00466479）

P2X7受容体拮抗薬は、2018年3月にライセンス契約を締結した旭化成ファーマ社との共同研究から創出された化合物である。末梢性神経障害性疼痛の治療薬を目指して第Ⅰ相臨床試験が終了しており、旭化成ファーマ社がライセンス契約を締結したリリー社が、第Ⅱ相臨床試験以降のグローバル開発を行う。同社は旭化成ファーマ社とのライセンス契約に基づき、商業化に成功した場合、同社は旭化成ファーマの収益に対して一定の料率でロイヤルティ収入を得ることとなっている。2022年11月、リリー社が第Ⅱ相臨床試験を開始してマイルストーンを達成し、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドル（約500百万円、1米ドル125円換算）を受領した。

TRPM8遮断薬（RQ-00434739）

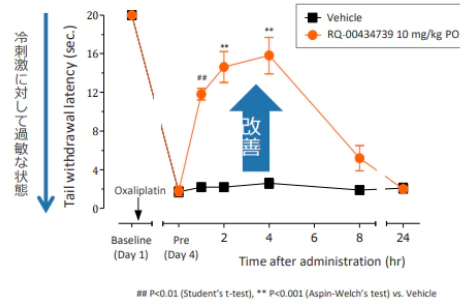
TRPM8は、同社において創出したプログラムである。摂氏28度以下の冷刺激またはメントール（ミント）によって活性化される温度感受性イオンチャンネルで、慢性疼痛をはじめとするさまざまな慢性疾患への関与が示唆されている。同社が創製した選択的TRPM8遮断薬（アザスピロ誘導体）は、慢性疼痛のモデル動物において既存薬とは異なる作用機序で効果を示し、画期的な新薬となる、と同社は期待している。例えば、オキサリプラチンを用いたがんの化学療法を受けた患者の約90%が、冷感による痛みを感じやすくなるが、同社のTRPM8遮断薬は冷感受容体であるTRPM8を直接阻害して、痛み信号の伝達を抑制する。

TRPM8遮断薬の効果



出所：会社資料

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



2021年9月、同社は日本を除く全世界を対象としたTRPM8遮断薬の独占的な開発・製造・販売権を、香港のXgene社に供与するライセンス契約を締結した。Xgene社は疼痛治療薬の開発に向けて、前臨床段階移行を実施しており、同社は契約一時金に加え、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売額に応じたロイヤルティ収入を受領することになっている（具体的な達成条件や金額については非開示）。

ナトリウムチャンネル遮断薬 (RQ-00350215)

ナトリウムチャンネルは、カリウムチャンネルなど他のイオンチャンネルとともに、神経の活動電位の発生と伝達を制御し、神経伝達に深くかかわる。同社が開発したナトリウムチャンネル遮断薬は、痛み信号の伝達に係る特定のナトリウムチャンネルの機能を選択的に遮断することにより、既存薬では十分な鎮痛効果が得られない慢性疼痛に関する画期的な新薬になる、と同社は期待している。

2021年12月、同社は全世界を対象とした独占的な開発・製造・販売権を、久光製薬株式会社（東証PRM 4530、以下、久光製薬社）に供与するライセンス契約を締結した。早期開発ステージでの導出にもかかわらず、同社は契約一時金として600百万円を受領したほか、2022年12月期以降の開発段階に応じたマイルストーンとして、最大3,000百万円を受領する可能性がある。また、同社が開発したナトリウムチャンネル遮断薬を含有する医薬品の承認・上市に至った場合には、一桁台後半の料率の販売ロイヤルティのほか、販売額に応じたマイルストーンとして最大で百数十億円を受け取る権利を有する。久光製薬社は同社が開発したナトリウムチャンネル遮断薬を含有する新たな疼痛治療薬の開発を前臨床試験段階から実施し、久光製薬社が強みを持つ経皮吸収型薬剤の臨床試験に向けた取り組みを進める計画である。

上記以外にも、開発段階などを非開示とするプロジェクトが2本進行している。「選択的ナトリウムチャンネル遮断薬」は鎮痛・鎮痙を適応としてマルホ社に、「特定のイオンチャンネル」は消化器領域を適応としてEAファーマ社に、それぞれ導出済である。

シクロオキシゲナーゼ-2 (COX-2) 阻害剤 (RQ-00317076)

同社が開発したシクロオキシゲナーゼ-2 (COX-2) 阻害剤 (RQ-00317076) は、既存のCOX-2阻害薬とは異なるタイプの化学構造を持つ化合物である。

同社は2013年1月に、AskAt社に対してRQ-00317076に関するすべての知的財産権、関連するデータおよび化合物原体を譲渡し、AskAt社がRQ-00317076から得る収益の一定率をロイヤルティ収入として受領する契約を締結した。AskAt社はRQ-00317076を第3世代COX-2阻害薬と位置付けており、術後疼痛を標的疾患として米国で実施された前期第II相臨床試験において、標準治療薬イブプロフェンと比較して有効性、即効性、持続性に優れた鎮痛作用に加え、高い安全性と忍容性を持つことが示された。2022年12月期現在では、AskAt社のライセンス先である中国の3D Medicines Co., Ltd. (非上場) がヒト用医薬品として第I相臨床試験を実施している。

2022年7月には、導出先であるAskAt社が米国Velo-1社と、全世界を対象とした動物用医薬品のライセンス契約および2年間の開発サポート契約を締結した。この契約締結により、RQ-00317076は現在開発中のヒト用医薬品に加え、動物用医薬品としても開発が進められることとなった。RQ-00317076は、イヌにおいて既存薬の非ステロイド性抗炎症薬 (NSAIDs) やCOX-2阻害薬と比べて副作用が発生するリスクが低く、術後などの急性疼痛や骨関節炎に伴う慢性疼痛の治療薬としても有望な化合物である、とAskAt社では考えている。

連結子会社テムリック社のパイプライン

タミバロテン (TM-411) (レチノイン酸受容体 α 作動薬：抗がん剤)

同社は、子会社のテムリック社において、がん領域に特化した創薬事業を行っている。

テムリック社は、2002年1月にがん領域に特化したCRO（医薬品開発受託機関）として設立された。テムリック社は2004年2月に、タミバロテン (TM-411) の日本および海外における抗悪性腫瘍薬（抗がん剤）としての、独占的開発権ならびに販売権を取得した。2009年3月、テムリック社はCRO事業を分社化し、スギメディカル株式会社（非上場、スギホールディングス株式会社（東証PRM 7649）傘下）に譲渡。2017年2月に、テムリック社は同社の完全子会社となった。

テムリック社の主要パイプラインであるタミバロテンは、2004年2月、日本および海外における抗悪性腫瘍薬（抗がん剤）としての独占的開発権ならびに販売権を取得した。2005年4月に、導入元の東光薬品工業株式会社（非上場）が急性前骨髄球性白血病（APL）に対するオーファンドラッグ*（希少疾病用医薬品）として、日本国内の製造販売承認を受けて上市している。製品名はアムノレイク[®]錠で、日本新薬株式会社（東証PRM 4516、以下、日本新薬社）が販売する。

*オーファンドラッグとは希少疾病用医薬品のことで、需要が少ないため開発コストが回収できないことが多く、積極的に開発が行われないため、見捨てられた孤児（オーファン）のような薬（ドラッグ）、と呼ばれる。

米国シロス社への導出

テムリック社は2015年9月に、北米および欧州におけるタミバロテンのがん治療薬としての開発販売権を、米国シロス社に導出し、開発段階におけるマイルストーンおよび販売後のロイヤルティを受け取る権利を保有している。シロス社は、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）の患者に発現するRAR α 遺伝子（RARA）をバイオマーカーとした、プレジジョン・メディシン*（高精度医療）としての新薬承認を目指す。シロス社は現在、米国において骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした第III相臨床試験と、急性骨髄性白血病（AML）を対象とした第II相臨床試験を行っている。

タミバロテンはレチノイン酸受容体の α サブタイプであるRAR α の選択的作動薬で、同社はRAR α をバイオマーカーとしたプレジジョン・メディシン*の新薬承認を目指している。連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: SYRS、以下、シロス社)に導出し、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が米国で進められている。

*プレジジョン・メディシン（高精度医療）とは、「がんゲノム医療」とも呼ばれ、遺伝子レベルでがんを解析し、そのがんにあった最適な治療を行う先端医療のこと。がん領域が一番進んでいるが、あらゆる病気が対象とされる。具体的には、がん細胞の遺伝子を次世代シーケンサー（DNAを構成する塩基の結合順を表した塩基配列を、高速かつ大量に解読する装置）で解析し、がんの原因となった遺伝子変異を見つけ、その遺伝子変異に効果があるように設計した分子標的薬を使用する手法。テーラーメイド医療や、個別化医療の一種。

MDSとAMLの患者におけるRAR α の発現量を解析すると、MDSの約50%、AMLの約30%でRAR α が高い数値となっている。抗がん剤とタミバロテンを併用することにより、タミバロテンがRAR α に結合すると、分化関係因子の遺伝子発現を制御し、がん細胞死を招くという抗腫瘍効果が示されている。タミバロテンとがん治療薬の併用療法については、2023年7月に日本における用途に関する特許査定が行われた。

シロス社は、未治療高リスクMDS患者を対象とした、高リスクMDSの標準治療薬アザシチジンとの併用による第III相臨床試験データを2024年第3四半期に公表し、2024年中にNDA申請を行う計画である。また、高齢者などで標準化学療法に適さないAML患者を対象に、ベネトクラクスとアザシチジンの3剤併用療法として行っている第II相臨床試験の安全性導入パートは、2022年12月にデータが公表された。公表された有望なデータに基づき、シロス社は無作為化試験パートに進む計画を発表、2023年第4四半期に無作為化試験パートの結果発表を予定している。

同社は、シロス社における開発の進捗に伴い、開発段階に応じたマイルストーンおよび上市後のロイヤルティを受け取る権利を有する。なお、タミバロテンは米国で骨髄異形成症候群（MDS）と急性骨髄性白血病（AML）を対象として、

欧州で急性骨髄性白血病（AML）を対象として、オーファンドラッグ指定*を取得済である。2022年7月には欧州においてがん幹細胞*²の増殖抑制剤の用途特許（国立研究開発法人産業技術総合研究所との共同出願）を取得した。また同年8月には、欧州医薬品庁（EMA：European Medical Agency）が、骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたオーファンドラッグ指定に関する肯定的意見を出したことをシロス社が発表した。

*オーファンドラッグ指定とは、患者数が少なく（米国200千人以下、欧州10千人に5人未満、日本5万人未満）、生命に大きな影響を与える希少疾病の治療に対する薬剤開発の支援を目的とした制度。オーファンドラッグ指定を受けた薬剤は、審査上の優遇措置や開発費の助成、販売開始からの期限付先発権保護など、様々なメリットを受けることができる。

*²がん幹細胞とは、幹細胞の性質（分裂して同じ細胞を作り出す「自己複製能」といろいろな細胞に分化できる「多分化能」）をもったがん細胞で、自己複製を行いながらがん細胞の供給源ともなる悪性細胞。がん幹細胞には、正常な幹細胞そのものががん化したものと、ある程度分化した細胞が長期に炎症を起こしてがん幹細胞化したものがある。前者は骨肉腫などの小児がんや血液がんによくみられ、細胞分裂が遅いため放射線治療や抗がん剤が効きにくく、再発や転移を起こす原因と考えられている。

2023年1月には米国FDAから高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象としたファストトラック指定を受けており、優先審査や審査の迅速化を同社は期待している。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換をより頻繁に行うことができ、さらに臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速審査の対象となる可能性がある。

このほか、名古屋大学を代表機関とする、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の臨床研究・治験推進研究事業として、膵がん、尿路上皮がんに対する臨床研究・医師主導治験が2023年3月から進行中である。同社はアジアの権利を保有しており、米国における開発の進展に合わせて、骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした日本と中国の権利と、すい臓がん（PC）を対象とした日本における権利の導出を目指している。

一般名	タミバロテン
作用機序	TM-411はRARαに高い親和性を示し、遺伝子の発現を調節することにより、白血病細胞の分化誘導やがん細胞の増殖抑制作用を示す。この抑制作用は、IL-6の産生およびIL-6R発現の抑制、IGFBP-3の発現亢進、VEGF依存性血管新生の抑制などを示し、様々ながん腫への応用が考えられる。 一方、骨髄中の造血幹細胞CAK-RARαに作用することにより、前駆細胞を経て好中球への分化促進、顆粒形成、ROSを誘導し、抗菌活性を示す。 好中球減少症の治療に使用されているG-CSF製剤と併用することで、より高い効果が期待できる。
適応症	骨髄異形成症候群（MDS）、急性骨髄性白血病（AML）、乳がん（BC）、小児がん、急性前骨髄球性白血病（APL）、神経芽腫（NB）、好中球減少症（NP）など
投与経路	経口（錠、カプセル）
導入元	東光薬品工業（株）、（有）ケムフィス

出所：会社資料よりSR社作成

導出済パイプライン（ペット）

3つの上市製品

同社がペット用医薬品として導出したEP4拮抗薬「グラピプラント」とグレリン受容体作動薬「カプロモレリン」は、ともにファイザー社から譲受した化合物である。同社は2010年12月に、米国Aratana Therapeutics Inc.（2019年にエランコ社により買収）全世界における動物用医薬品としての開発、販売および製造の再実施許諾権付独占実施権を供与した。

導出済プログラム（ペット）

プログラム名	一般名・化合物コード	導出先	主適応症	実施地域	開発段階
EP4拮抗薬 GALLIPRANT®	RQ-00000007 (grapiprant)	Elanco Animal Health Inc. (米国)	変形性関節症 (犬)	米国	販売中
グレリン受容体作動薬 ENTyce®	RQ-00000005 (capromorelin)		食欲不振 (犬)	欧州	販売中
グレリン受容体作動薬 ELURA®	RQ-00317076		慢性腎疾患の体重減少管理 (猫)	日本	販売中
COX-2阻害薬	RQ-00317076	AskAt社	疼痛	—	パイロット試験準備中

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

GALLIPRANT®（EP4拮抗薬、一般名：グラピプラント）

犬の変形性関節症を適応症としたGALLIPRANT®（ガリプラント）は、2017年1月に米国で販売され、世界20カ国以上で米国エランコ社により販売されている。非ステロイド消炎鎮痛剤でファースト・イン・クラス（画期的医薬品）*の

GALLIPRANT®は、日本においても2020年10月に販売開始されて順調に販売を伸ばしている。2021年12月期の売上高は100百万米ドル（約12,500百万円）に達し、エランコ社史上10個目のブロックバスターとなった。

*ファースト・イン・クラス（画期的医薬品）とは、医薬品のうち新規性や有用性が高く、従来の治療体系を大きく変えるような画期的な医薬品のこと。これまでになかった化学構造や、治療コンセプトであることが多い。また、ベスト・イン・クラス（改良型医薬品）とは、ファースト・イン・クラスの医薬品の欠点を補い、既存薬に対して明確な優位性を持つ医薬品のこと。

ENTYCE®・ELURA®（グレリン受容体作動薬、一般名：カプロモレリン）

ENTYCE®（エンタイス）は、犬の食欲不振症治療薬として、エランコ社が米国において販売している。また、慢性腎疾患（CKD：Chronic Kidney Disease）の猫の体重減少を管理する薬「ELURA®（エルーラ）」として米国で販売されており、2022年3月には欧州で承認申請を行った。これに伴い、同社は2022年12月期の第1四半期にマイルストーン収入として115百万円を受領した。販売地域の拡大などの進展があった場合は、契約で定めるマイルストーン収入と、販売額に応じたロイヤルティを受領することとなっている。同社によれば、類似品がない中で、ENTYCE®とELURA®は着実に販売を増やしている。

ELURA®のポテンシャル

同社によれば、日本では10歳以上のネコの3割以上、全体の9%以上となる約648千匹のネコが慢性腎疾患（CKD）を発症する。CKDのネコは食欲不振と嘔吐を繰り返して病気が進行するにつれて体重が減り続け、寿命を縮める可能性がある。同社のELURA®をCKDのネコに56日間使用した結果、治療を受けたネコの80%以上で体重が増加した。米国では74,059千匹、欧州では56,600千匹のネコが飼育されており、潜在的な市場規模は大きいと同社は推定している。

シクロオキシゲナーゼ-2（COX-2）阻害剤（RQ-00317076）

同社が創出したシクロオキシゲナーゼ-2（COX-2）阻害剤（RQ-00317076）は、既存のCOX-2阻害薬とは異なるタイプの化学構造を持つ化合物である。同社は2013年1月に、AskAt社に対してRQ-00317076に関するすべての知的財産権、関連するデータおよび化合物原体を譲渡し、AskAt社がRQ-00317076から得る収益の一定料率をロイヤルティ収入として受領する契約を締結した。AskAt社はヒト用医薬品としてCOX-2阻害薬の開発を進めてきたが、2022年7月、米国Velo-1社と、全世界を対象とした動物用医薬品のライセンス契約および2年間の開発サポート契約を締結し、動物用医薬品としても開発が進められることとなった。RQ-00317076は、イヌにおいて既存薬の非ステロイド性抗炎症薬（NSAIDs）やCOX-2阻害薬と比べて副作用が発生するリスクが低く、術後などの急性疼痛や骨関節炎に伴う慢性疼痛の治療薬としても有望な化合物である、とAskAt社では考えている。

ペット向け医薬品は薬価改定の影響を受けないため、安定したロイヤルティ収入が得られる

日本において、ヒト向けの医療用医薬品の価格である「薬価」は、厚生労働省によって日本全国一律に定められている。一方、医薬品の流通過程では、医薬品卸会社が医療機関や保険薬局に卸売価格で販売を行うため、薬価との差が発生する。厚生労働省は保険給付の負担軽減のため、医薬品ごとに販売価格と販売量を調査し、その結果に基づいて毎年（2018年4月までは隔年）薬価改定を行い、価格を引き下げる。2021年4月の薬価改定までの過去5回では、薬剤費ベースで平均5.69%の引き下げが行われた。高額な治療薬が公的保険の適用となり、保険財政に大きな影響を与えると考えられ、このように段階的に引き下げられる仕組みである。そのため製薬企業にとっては、巨額の投資と長い開発期間を経て上市した医薬品から、計画通りの利益を得ることが難しい状況となっている。

現在同社がロイヤルティ収入を得ている動物薬は、市場規模はヒト向けの医薬品より小さいものの、国内外において「薬価」が存在しないため価格の維持あるいは値上げが可能であり、売上高に料率をかけたロイヤルティ収入が減少しづらいことから、安定した収益が確保できるとSR社では考える。

ペット用医薬品とヒト用医薬品の違い

	動物用医薬品	ヒト用医薬品
医療費抑制・薬価改定	基本的に自由診療で薬価制度がなく、メーカーが価格決定権を持つ。	薬価制度のある国では政府、ない国でも保険会社が価格決定に影響を及ぼす。
後発医薬品	特許失効後にやや低い価格で少数の企業が参入。日本国内でも後発品使用促進への行政指導は少ない。	特許失効後は多数の後発品企業が低価格で参入。日本国内では政府による後発品使用促進。
消費者動向	飼い主（消費者）はブランド・品質を重視する傾向が強く、特許失効後も同じ製品を使い続ける傾向。	価格は重要な判断指標で、特許失効後は低価格の後発品への置き換えが進む傾向。

出所：会社資料よりSR社作成

導出準備パイプライン

現在同社は、6本の導出準備パイプラインを保有する。6本の中には、テゴプラザンやTRPM8遮断薬など、日本以外の権利を導出済の開発品も含まれている。

導出準備プログラム

プロジェクト名	一般名・化合物コード	主適応症	対象地域	開発段階
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	P1準備中
5-HT4部分作動薬	RQ-00000010	胃不全麻痺・機能的胃腸症・慢性便秘	全世界	P1終了
5-HT2B拮抗薬	RQ-00310941	下痢型過敏性腸症候群（IBS-D）	全世界	P1終了
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	全世界	前臨床終了
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	前臨床実施中
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	疼痛	日本	前臨床検討中

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB（一般名：テゴプラザン）

テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD：逆流性食道炎）を主な適応症とし、既存治療の主流であるプロトンポンプ阻害剤（PPI：Proton Pump Inhibitors）に代わる新薬である。2010年9月にHKイノエン社に導出したテゴプラザンについては、同社が日本における権利を有しており、第Ⅰ相臨床試験にあたる薬理試験の準備中である。同社は2023年12月期に薬理試験を終了し、2024年12月期に導出して国内導出のドライバーとする考えで、導出先を模索中である。

韓国データを活用して国内承認申請を準備

同社はテゴプラザンの価値の最大化を企図して、日本において韓国データを活用した迅速かつ効率的な開発・承認取得のため臨床薬理試験の準備中であり、医学専門家の助言を受けて試験プロトコルを検討、治験相談に向けてPMDAとの交渉を開始した。テゴプラザンは韓国において、びらん性・非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ピロリ除菌補助療法などで承認されているが、日本国内の承認申請に韓国のデータを活用するには、日本人と韓国人の民族差を評価する必要があると同社は考えている。同社は臨床薬理試験の終了を2023年、費用については500百万円を見込む。

ベスト・イン・クラスとなる可能性

P-CABのうち、非びらん性胃食道逆流症の適応を持つのは、同社のテゴプラザンのみである。日本、中国、米国では前述の「タケキャブ®」が先行している、非びらん性胃食道逆流症の適応についての承認は未取得である。日本では非びらん性胃食道逆流症がGERDの60%を占めており（出所：大阪府医学会「胃食道逆流症および関連疾患の病態と治療」、2016年）、またテゴプラザンはボノプラザン（タケキャブ®）と比べてガストリン値が上昇しにくい特長もあることから、テゴプラザンの承認が日本で取得できれば、タケキャブ®に置き換わる可能性が高い、とSR社では推定している。同社によれば、2020年における日本の胃食道逆流症の患者数は17百万人（人口比14%）で、市場規模は250,000百万円であった。

5-HT4部分作動薬（RQ-00000010）

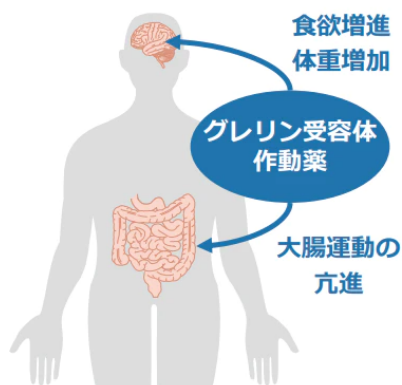
胃不全麻痺、機能的胃腸症、慢性便秘など、消化管運動不全を目的適応症として開発中の化合物。2013年1月にAskAi社と提携を開始し、英国における、健康成人および患者を対象とした第Ⅰ相臨床試験を終了している。導出活動を進めるほか、次の開発段階である第Ⅱ相臨床試験の実施に向けた検討を行っている。

グレリン受容体作動薬 (RQ-00433412)

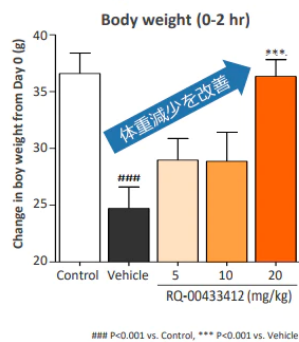
がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発中で、同社が創業後に新たに創製した化合物である。前臨床試験用の原薬製造を完了し、2021年12月期第4四半期（2021年10月～12月）から外部委託による前臨床試験を実施中である。同社は2023年12月期末までに前臨床試験を終了して2024年に全世界の権利を導出する計画で、候補先を模索している。

がん悪液質とは、進行がん患者の初診時に約50%、終末期の80%に認められる合併症の1つである。主な症状は体重減少、骨格筋量減少、食欲不振などで、化学療法の効果が弱くなったり、副作用や治療中断、ひいては生存率にも影響するため、積極的な治療が必要である。グレリン受容体作動薬は、視床下部に働きかけ、食欲を増進し、脳下垂体からの成長ホルモンの放出を促し、筋肉量および体重を増加させる作用がある。また、脊髄損傷者の多くは自律神経障害により排便障害を患っているが、既存の緩下剤では下痢の恐れがあるため、より使いやすい排便促進薬が医療現場から求められている。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効果がある。

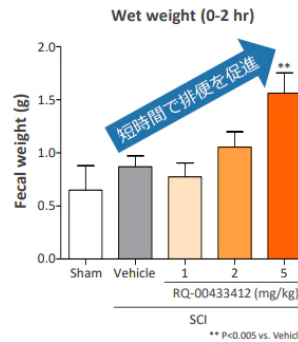
グレリン受容体作動薬の効果



担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



脊髄損傷ラットにおけるRQ-00433412の効果



出所：会社資料

TRPM8遮断薬 (RQ-00434739)

TRPM8は、摂氏28度以下の冷刺激またはメントール（ミント）によって活性化される温度感受性イオンチャネルで、慢性疼痛をはじめとするさまざまな慢性疾患への関与が示唆されている。同社が創製した選択的TRPM8遮断薬（アザスピロ誘導体）は、慢性疼痛や膀胱炎のモデル動物において既存薬とは異なる作用機序で効果を示しており、疼痛領域および泌尿器疾患領域において画期的な新薬となることを同社は期待している。2021年9月、同社は日本を除く全世界を対象としたTRPM8遮断薬の独占的な開発・製造・販売権を、香港のXgene社に供与するライセンス契約を締結した（導出済パイプライン（ヒト）TRPM8遮断薬の項を参照）。

モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894)

胃不全麻痺、機能的胃腸症、術後イレウスなどの消化管運動不全を目標適応症とした化合物。第Ⅰ相臨床試験の実施に必要な前臨床試験を終了しており、導出活動を進めるほか、次の開発段階である第Ⅰ相臨床試験の実施に向けた検討を行っている。

探索研究段階のパイプライン

2023年3月時点で、同社が探索研究を行っているプログラムは8本あり、そのうち6本については企業やアカデミアとの共同研究を行っている。

	共同研究相手	対象疾患	標的分子	2022年期初	2023年期初	
企業	あすか社	非開示	イオンチャンネル	○	○	
	ソシウム社	難病・希少疾患	非開示	AIの創薬応用	—	○
	STAND社	難病・希少疾患	イオンチャンネル	新規モダリティ	—	○
	DWTI社	眼疾患	イオンチャンネル	—	○	
	VIS社	がん疾患	非開示	新規モダリティ	—	○
	インタープロテイン社	疼痛	非開示	—	○	終了
アカデミア	岐阜薬科大学	眼疾患	非開示	—	○	
	長崎大学	COVID-19	非開示	学術研究	○	終了
自社単独	—	非開示	イオンチャンネル	○	○	
	—	非開示	イオンチャンネル	○	○	
	—	非開示	イオンチャンネル	○	終了	
	—	心不全	GPCR (CRHR2)	○	終了	
	—	非開示	その他	○	終了	

出所：会社資料よりSR社作成

特定のイオンチャンネルを標的とした創薬研究

主適応症は非開示。同社は2019年7月から、特定のイオンチャンネルを標的とした新薬の創出を目指した共同研究をあすか製薬社と行ってきた。2023年6月、共同研究の成果を用いた発展的な共同研究の実施について協議を重ねた結果、共同研究契約を終了することに双方で合意した。契約終了に伴い、共同研究の成果については同社に帰属し、今後は単独で新薬の創出を目指した研究開発を進めることになった。

ほかに、岐阜薬科大学と共同で、網膜静脈閉塞症を主疾患とした研究を行っている（詳細は非開示）。恒常的に7～10プログラムの探索研究を実施することで、継続的に画期的な開発候補化合物を創出できる、と同社は考えている。

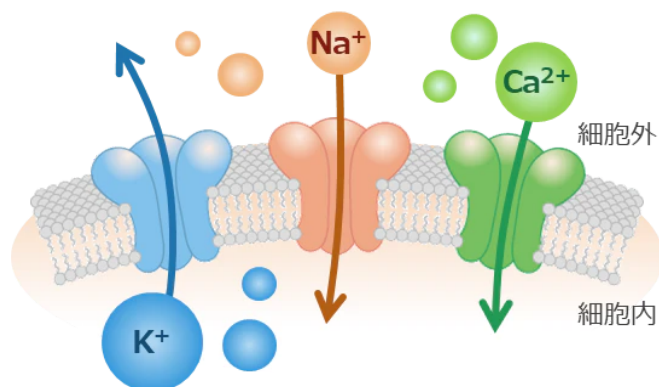
イオンチャンネル創薬

同社は、イオンチャンネルをターゲットとした創薬研究と5本のプログラムの導出実績がある。イオンチャンネルとは、細胞の内外へイオンを通過させる膜タンパク質である。さまざまな細胞に発現し、ナトリウムチャンネル、カルシウムチャンネル、カリウムチャンネル、塩素イオンチャンネルなど、種類によって通過できるイオンが決まっている。

イオンチャンネルは細胞機能の維持に必須であり、さまざまな生理現象に深く関与し、100種類以上存在する。イオンチャンネルの制御により幅広い疾患を治療できる可能性があるが、1つのイオンチャンネルを遮断すると、別の場所のイオンチャンネルも同時に遮断されて全身に影響が出るため、選択的な遮断を行わないと副作用が強くなる。心臓や脳など生命活動の根幹を担う臓器に広く発現しているため、心毒性や神経毒性といった致命的な副作用が出やすい傾向がある。化合物のデザインのノウハウと、それを評価するためのハイスループットスクリーニング*を常に行える体制が必要とされるため、参入する企業が少ないニッチな領域である。そのためイオンチャンネルをターゲットとした医薬品は全体の10%未満にすぎず、同分野で5つのライセンスを導出している企業は世界でも同社以外にはない。

*ハイスループットスクリーニング（HTS）とは、新薬の候補となる膨大な数の化合物から、有用なものを迅速に高効率で選別する技術のこと。高速で効率の良いスクリーニングを行うためには、化合物の保管、構造の多様性、溶液調整、プレート作成、アッセイ技術、ロボットアッセイの実施、各種測定法、データ処理とデータベース構築などのすべての過程を対象として全体的にシステム化する必要がある。

イオンチャンネルの仕組み



出所：会社資料

イオンチャネルが関与するさまざまな生理現象

神経シグナル伝達	→	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、筋萎縮等	→	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

出所：会社資料よりSR社作成

元ファイザー社で研究に携わった研究者が、高度な技術と豊富な経験を基に、イオンチャネルを標的とした多くの創薬研究を行っている。さらにスクリーニングの効率を向上させるため、浜松ホトニクス株式会社（東証PRM 6965）と共同で独自の電位依存性イオンチャネル評価システム「EFS-FRET評価システム」を開発した。このシステムにより1日あたり約1,000データポイントが取得でき、低コストで高い精度のイオンチャネルの評価が可能である。電気生理学*の試験も社内で行うことができ、評価系の差別化につながっている。

*電気生理学とは、神経、脳、筋肉、その他の組織または細胞の電気的性質と生体に及ぼす作用を解明する生理学のひとつまたは実験技術。生きている細胞の細胞膜の内側は、外側に対して電気を帯びた状態を保っており、感覚細胞や神経細胞は細胞外からのさまざまな刺激・情報を受け取ると、膜電位を変化させる。特に神経生理学は電気生理学的研究が中心となって行われ、イオンチャネルや受容体など、分子レベルの研究が行われている。

同社は、国内外の企業とイオンチャネル創薬の共同研究を行った実績があり、その中から導出したプログラムもある。

- Eli Lilly & Co. (米国)：2010年～2014年
- 味の素製薬株式会社 (現・EAファーマ社) (日本)：2012年～2017年
- 旭化成ファーマ株式会社 (日本)：2013年～2018年
- XuanZhu Pharma Co., Ltd. (中国)：2015年～2018年
- あすか製薬株式会社 (日本)：2019年～2023年

同社が創製した開発候補化合物とライセンス契約先

プログラム	化合物コード	主な適応症	導出先	開発段階
P2X7受容体拮抗薬	RQ-00466479/AK1780	—	旭化成ファーマ社	2013年共同研究 米国Eli Lilly社がP2実施中
選択的ナトリウムチャネル遮断薬	非開示	鎮痛・鎮痒	マルホ社	2017年導出 非開示
特定のイオンチャネル	非開示	特定の消化器疾患	EAファーマ社	2012年共同研究 非開示
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	慢性疼痛	Xgene社	2021年導出 前臨床準備中
ナトリウムチャネル遮断薬	RQ-00350215	慢性疼痛	久光製薬社	2021年導出 前臨床準備中

出所：会社資料よりSR社作成

同社が2021年12月期に導出したTRPM8遮断薬とナトリウムチャネル遮断薬は、ともにイオンチャネルをターゲットとした創薬プログラムである。

神経疾患への疾患領域の拡大

同社は、イオンチャネル創薬技術を活かして、従来の「疼痛・消化器」中心のラインナップから「神経疾患」に拡大するため、自社開発へのシフトを決定した。2022年12月期以降、標的分子探索や疾患モデルでアカデミアと連携し、神経変性疾患、遺伝病・希少疾患の治療薬の開発に取り組んでいる。同社が長年取り組んできた疼痛は神経に係る疾患のひとつであり、希少疾患のうち神経系に係る疾患に対するニーズが高まっている中で、同社が有する技術や設備を活用できると判断した。

市場とバリューチェーン

世界の医薬品市場

米国IQVIA Holdings, Inc. (NYSE: IQV、以下、IQVIA社) によれば、2021年の世界の医療用医薬品の売上高は1.4兆米ドル (187.1兆円、1米ドル130.0円換算) で、2027年までに1.9兆米ドル (247兆円、同) に上昇すると予測している。

世界の医薬品市場規模

(10億米ドル)	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	年平均成長率
米国	331	326	343	389	431	455	465	493	521	545	586	5.2%
日本	112	109	91	85	79	89	85	85	88	88	87	-0.5%
中国	67	85	97	111	121	123	128	137	151	148	170	6.8%
欧州	263	246	258	266	239	245	259	279	284	301	338	6.7%
中東米	67	71	73	65	75	87	98	69	70	63	73	-3.5%
その他	124	128	132	138	161	143	146	156	163	164	186	5.4%
世界合計	963	964	994	1,056	1,104	1,141	1,179	1,218	1,277	1,309	1,440	4.8%

出所：製薬協DATABOOK2023（データ元：IQVIA）よりSR社作成

*年平均成長率は2021年までの5年間

主な標的疾患の潜在市場規模

疾患名	患者数	市場規模	地域	既存薬	同社開発パイプライン
胃食道逆流症	58百万人 (米国)	2兆円	(全世界)	H2RA	テゴブラザン
	17百万人 (日本)	4,500億円	(米国)	PPI	
疼痛		2,500億円	(日本)	ボノブラザン	EP4拮抗薬、COX-2阻害薬、 TRPM8遮断薬、P2X7受容体拮抗薬、 ナトリウムチャンネル遮断薬、CB2作動薬
	50百万人 (米国)	2兆円	(全世界)	ブレガバリン	
	23百万人 (日本)	3,000億円	(日本)	デュロキセチン	
がん免疫	がん患者の約12%ががん免疫療法に 応答	10兆円	(全世界)	ニボルマブ	EP4拮抗薬
				ペムプロリズマブ ほか	
慢性便秘	42百万人 (米国)	6,600億円	(全世界)	リナクロチド	5-HT4部分作動薬
		600億円	(日本)	ルビプロストン ほか	
胃不全麻痺	80~400千人	2,000億円	(全世界)	メトクロプラミド ほか	5-HT4部分作動薬
					モチリン受容体作動薬
過敏性腸症候群	日本・西洋の成人の5~20%	1,000億円	(全世界)	リファキシミン ラモセトロン ほか	5-HT2B拮抗薬
がん悪液質	がん患者の20%以上が悪液質を発症	2,000億円	(全世界)	アナモレリン	グレリン受容体作動薬
脊髄損傷に伴う便秘	300百万人	200億円以上	(全世界)	便秘薬	グレリン受容体作動薬
脊髄異形成症候群	6~17万人 (米国)	1,000億円	(全世界)	アザシチジン ほか	タミバロテン
急性骨髄性白血病	16万人 (全世界)	1,000億円	(全世界)	アザシチジン	タミバロテン
	7,000人 (日本)			ベネトクラクス ほか	

出所：会社資料よりSR社作成

消化性潰瘍薬の市場規模

Global Industry Analysts, Inc.によると、消化性潰瘍治療薬の市場規模は2020年の4.9十億米ドル (0.6兆円、1米ドル120.0円換算) から2027年には5.9十億米ドル (0.7兆円、同、CAGR2.6%) に達する見通しである。胃酸の分泌を抑えるプロトンポンプ阻害剤 (PPI: Proton Pump Inhibitors) は、2027年に4.2十億米ドル (0.5兆円、同、CAGR2.5%) に達すると予測されている。

国内医薬品市場の推移

IQVIA社によると、2022年の国内医療用医薬品の売上高は10.9兆円 (前年比3.2%増) となり、8年連続で10兆円を上回った。制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤の売上高は331,675百万円 (同5.7%減) で、武田薬品社の抗潰瘍薬「タケキャブ®」が111,888百万円 (同0.7%増) で、製品別売上高第4位となった。

国内医療用医薬品市場推移

暦年・百万円	2000	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009	2010
国内医療用医薬品	6,455,972	6,698,087	6,775,152	7,056,186	7,203,310	7,745,509	7,696,972	8,047,859	8,254,290	8,851,647	8,873,623
前年比	0.0%	3.8%	1.2%	4.1%	2.1%	7.5%	-0.6%	4.6%	2.6%	7.2%	0.2%
制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤	391,242	400,632	383,713	392,301	395,660	418,112	408,593	422,148	427,027	446,651	429,890
前年比	-1.0%	2.4%	-4.2%	2.2%	0.9%	5.7%	-2.3%	3.3%	1.2%	4.6%	-3.8%
	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
国内医療用医薬品	9,481,578	9,547,314	9,846,641	9,983,426	10,597,934	10,623,980	10,514,878	10,337,471	10,625,631	10,371,733	10,599,031
前年比	6.9%	0.7%	3.1%	1.4%	6.2%	0.2%	-1.0%	-1.7%	2.8%	-2.4%	2.2%
制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤	434,997	408,604	418,289	397,394	389,788	376,365	377,550	349,783	351,329	347,142	351,640
前年比	1.2%	-6.1%	2.4%	-5.0%	-1.9%	-3.4%	0.3%	-7.4%	0.4%	-1.2%	1.3%
	2022										
国内医療用医薬品	10,939,481										
前年比	3.2%										
制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤	331,675										
前年比	-5.7%										

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

日本における薬価改定の影響

ヒト向けの医療用医薬品の価格である「薬価」は、厚生労働省によって日本全国一律に定められている。新しく開発されて上市される医療用医薬品の価格は、すでに使用されて効き目が似ている薬剤の価格と比較して決められる（類似薬効比較方式）。比較してより高い有効性や新規性が認められれば補正加算され、価格が上乘せされる。似たような薬効を持つ比較対象がない場合には、原材料費や製造費などの原価をもとに価格が決められる（原価計算方式）。そのため、先発品と後発品では成分が同じであっても1.5～3.5倍の価格差が発生する。

一方、医薬品の流通過程では、自由な価格競争が行われている。医療機関や薬局は公定価格である薬価に基づいて薬の費用を請求する一方で、製薬企業から医薬品卸会社、医薬品卸会社から医療機関や保険薬局に販売される価格は、自由に価格設定された卸売価格で販売を行うため、薬価との差が発生する。厚生労働省は保険給付の負担軽減のため、医薬品ごとに販売価格と販売量を調査し、その結果に基づいて毎年（2018年4月までは隔年）薬価改定を行って価格を引き下げている。高額な治療薬が公的保険の適用となり、保険財政に大きな影響を与えられ、段階的に引き下げられる仕組みである。2021年4月の薬価改定までの過去5回では、薬剤費ベースで平均5.69%の引き下げが行われた。

日本における薬価改定の仕組みがあることで、巨額の投資と長い開発期間を経て上市した医薬品から、製薬企業が計画通りの利益を得ることが難しい状況となっている。2022年4月に行われた薬価改定は、医療費ベースで1.44%の改定率、薬剤費ベースでは6.69%の引き下げとなった。これにより2022年度の国内医薬品市場規模に対して、約600,000百万円以上の縮小要因となっている。

2022年8月時点で厚生労働省が行った調査によると、新型コロナウイルス感染症拡大の影響による需要急増、ロシア・ウクライナ情勢や急速な円安進行によるコスト高や、2021年2月から頻発した医薬品製造にかかわる行政処分などにより、医薬品全体の28.2%、後発品の41.0%で欠品・出荷停止や限定出荷が発生した。そのため2023年度の中間年改訂では、物価高騰や安定供給のための臨時・特例措置として不採算品再算定を実施し、1,100品目の不採算品すべての薬価が引き上げられることとなった。2023年度の改定では全収載品目の48%（9,300品目）で薬価が引き下げられ、46%（9,000品目）は薬価を維持し、6%（1,100品目）は不採算品再算定により薬価が引き上げられる。

薬価改定率と平均乖離率の推移

	1994	1996	1998	2000	2002	2004	2006	2008	2010
改定率（薬剤費ベース）	-6.6%	-4.4%	-9.7%	-7.0%	-6.3%	-4.2%	-6.7%	-5.2%	-5.75%
改定率（医療費ベース）	-2.0%	-1.3%	-2.7%	-1.6%	-1.3%	-0.9%	-1.6%	-1.1%	-1.23%
平均乖離率	17.8%	13.1%	9.5%	7.1%	6.3%	8.0%	6.9%	8.4%	8.4%
	2012	2014	2016	2018	2020	2021	2022	2023	
改定率（薬剤費ベース）	-6.00%	-5.64%	-5.57%	-7.48%	-4.35%	-4.38%	-6.69%	-	
改定率（医療費ベース）	-1.26%	-1.22%	-1.22%	-1.65%	-0.93%	-0.99%	-1.44%	-	
平均乖離率	8.2%	8.8%	9.1%	7.2%	8.0%	8.0%	7.6%	7.0%	

出所：厚生労働省「薬価改定の推移」よりSR社作成

世界のペット用医薬品市場規模

Global Market Insights Research Inc.（非上場）によれば、2022年における世界のペット用医薬品市場規模は約13.1十億米ドル（約1.7兆円、1米ドル130.0円換算）で、2032年までの年平均成長率は約6.8%と予測されている。新興国などの経済成長や中間所得層の拡大により、ペットの頭数は増加しており、ペット用医薬品市場は成長が続いている。

犬とネコの飼育頭数（単位：1,000匹）

犬の飼育頭数		ネコの飼育頭数		
米国	69,929	1	米国	74,059
中国	27,400	2	中国	53,100
ロシア	12,520	3	ロシア	17,800
日本	12,000	4	ブラジル	12,466
フィリピン	11,600	5	フランス	11,480
インド	10,200	6	ドイツ	8,200
アルゼンチン	9,200	7	UK	8,000
UK	9,000	8	イタリア	7,400
フランス	7,570	9	ウクライナ	7,350
南アフリカ	7,400	10	日本	7,300

出所：The Hollard Insurance Company Pty Ltd. 「A Guide to Worldwide Pet Ownership」のデータよりSR社作成

創薬モダリティの変遷





従来、製薬業界では低分子化合物による創薬が大半を占めていたが、1990年代から抗体、酵素、ホルモンなどを応用してバイオテクノロジーによって作られた「バイオ医薬品」が承認されるようになった。現在では中分子医薬、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬、再生医療など、モダリティが多様化している。

低分子医薬品とバイオ医薬品の違い

低分子医薬品は分子量500以下と小さく、安定した化学構造であり、化学合成によって製造される。製造費や開発費は比較的安く、剤形は錠剤だけでなく多種多様である。一方バイオ医薬品の分子量は数千から15万と大きく、構造は複雑で均一ではない。細胞や微生物を用いて生成され、製造費や開発費は低分子医薬品に比べて非常に高く、経口投与するとタンパク質であるため消化酵素で分解されてしまうことから、主に注射剤である。

バイオ医薬品は遺伝子組み換え技術を用いて細胞で作られ、製造工程は非常に複雑なことから、温度、酸素濃度、攪拌速度、細胞密度などのわずかな変化によって品質が変わってしまうことがあり、製法の確立には高い技術とコストが必要となる。化学合成の低分子医薬品では約50種類の工程内管理試験が行われるのに対し、バイオ医薬品では約250種類の工程内試験が行われる。バイオ医薬品は培養方法が未確立であったり、確立済みの場合にも海外企業が特許を取得している場合が多く、専門人材も国内には不足している。量産化に向けて製品の安全性および有効性を常に維持するため、高い精度の品質管理基準（GMP）と定められた規格への適合が規制当局から求められている。

低分子医薬品・中分子医薬品・バイオ医薬品の特徴

医薬品の種類	低分子医薬品	中分子医薬品・バイオ医薬品		
		ペプチド	核酸	抗体
形状（イメージ）				
分子量	100~500	500~1万	~1万	約10万~
製法	化学合成	化学合成/培養	化学合成/培養	培養
標的分子	タンパク質	○	○	○
	核酸 (DNA/RNA)	○	○	○
標的分子の所在	細胞内	○	○	○
	細胞外	○	○	○
投与経路	経口	○	○	○
	その他	○	○	○

出所：会社資料

米国FDAの承認件数

	1993	1994	1995	1996	1997	1998	1999	2000	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007
新規有効成分含有医薬品 (NMEs)	23	19	28	47	34	25	33	25	19	11	15	31	18	18	16
構成比	92.0%	90.5%	96.6%	88.7%	87.2%	83.3%	94.3%	92.6%	79.2%	64.7%	71.4%	86.1%	90.0%	81.8%	88.9%
生物学的製剤 (BLAs)	2	2	1	6	5	5	2	2	5	6	6	5	2	4	2
構成比	8.0%	9.5%	3.4%	11.3%	12.8%	16.7%	5.7%	7.4%	20.8%	35.3%	28.6%	13.9%	10.0%	18.2%	11.1%
新規有効成分含有医薬品 (NMEs)	21	20	15	24	33	25	30	33	15	34	42	38	40	36	22
構成比	87.5%	76.9%	71.4%	80.0%	84.6%	92.6%	73.2%	73.3%	68.2%	73.9%	71.2%	79.2%	75.5%	72.0%	59.5%
生物学的製剤 (BLAs)	3	6	6	6	6	2	11	12	7	12	17	10	13	14	15
構成比	12.5%	23.1%	28.6%	20.0%	15.4%	7.4%	26.8%	26.7%	31.8%	26.1%	28.8%	20.8%	24.5%	28.0%	40.5%

出所：会社資料よりSR社作成

*新規有効成分含有医薬品=低分子医薬品、生物学的製剤=バイオ医薬品

ラクオリア創薬 4579

バイオ医薬品は、低分子では難しかった標的へのアプローチが可能になったというメリットはあるものの、経口薬を作れないなどのデメリットもある。2022年における米国FDAの承認件数に占める低分子医薬品の割合は、2021年より減少したが、59.5%と依然として低分子医薬品の方が多い。

競合他社動向

経済産業省は、バイオベンチャーのビジネスモデルを下記のように大きく3つに分類している。同社は疼痛・消化器領域の創薬シーズとイオンチャネル創薬の技術をコアとするパイプライン型創薬ベンチャーであり、探索研究、前臨床試験、前期臨床試験を行っている。

バイオベンチャーのビジネスモデル分類

ビジネスモデル		日本企業の例
創薬基盤技術型（プラットフォーム型）	創薬シーズを創出する技術を持ち、生み出したシーズを他社に導出	ペプチドリーム カルナバイオサイエンス
創薬パイプライン型（パイプライン型）	シーズ探索から自社開発、自社販売まで一貫通貫で実施	ナノキャリア 同社
パイプライン買収型（導入開発型）	他社の有望パイプラインを企業買収または導入で獲得	モーセイグループ ソレイジア・ファーマ

出所：経済産業省（2017年「バイオベンチャーのビジネスモデルと資金調達あり方」）、会社資料よりSR社作成

*創薬パイプライン型は、適応疾患や販売地域などの部分的導出やアライアンスによる開発・販売など、多彩な戦略がある。

創薬ベンチャー企業各社の直近通期実績

証券コード	企業名	直近通期実績			主な特徴
		売上高 (百万円)	営業利益率 (%)	ROE (%)	
4579	ラクオリア創薬	2,918	29.7%	14.1%	ファイザー社日本人の中央研究所が前身。新規開発化合物の導出による収益獲得が事業の基本。疼痛・消化器中心だった疾患領域を、神経疾患に拡大
2160	GNIグループ	17,419	7.9%	7.9%	中国を拠点に新薬探索、臨床開発から製造、販売まで一貫した事業活動を行う。中国の特発性肺線維症薬で高シェア。米中に研究開発拠点を持つ
4565	モーセイグループ	15,569	22.1%	0.7%	膜タンパクGPCR標的創薬を行うベンチャー企業。元ジェネテック社長の田村真一氏が創設。買収した英ヘプタレス社が事業の柱
4571	ナノキャリア	264	-780.6%	-29.1%	がん領域に特化した創薬ベンチャー。超微細な「ミセル化ナノ粒子」で副作用の少ない新薬を目指す
4572	カルナバイオサイエンス	1,387	-91.6%	-26.4%	キナーゼタンパク質の販売や受託試験など創薬初期の支援事業で安定収益。BTK阻害剤などの創薬も手掛ける
4582	シンバイオ	10,008	19.6%	14.6%	癌、血液領域を中心とする希少疾患薬に特化。他社から新薬候補物質を導入して開発、製品化を行う
4587	ペプチドリーム	26,852	33.4%	26.3%	独自の創薬プラットフォームシステムPDPsを活用し、特殊ペプチドによる医薬品候補を大手製薬と創製、技術供与を行う。新型コロナウイルス治療薬も開発中
4597	ソレイジア・ファーマ	1,092	-226.1%	-97.1%	がん領域が主。候補物質の開発権導入による臨床開発が主体の創薬ベンチャー。ファブレスで海外企業に製造委託
4883	モダリス	41	-5,094.3%	-63.8%	切断しない独自のゲノム編集技術を用いた創薬により、希少疾患に属する遺伝子疾患の治療薬を創製するベンチャー企業。米国に研究拠点を有する

出所：各社資料よりSR社作成

(百万円)	ラクオリア創薬 (4579)			GNIグループ (2160)			モーセイグループ (4565)		
	20年12月期 連結	21年12月期 連結	22年12月期 連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結	22年12月期 IFRS連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結	22年12月期 IFRS連結
売上高	1,107	2,776	2,918	9,774	12,690	17,419	8,842	17,712	15,569
売上総利益	969	2,456	2,686	8,228	11,090	14,745	8,081	16,779	14,643
研究開発費	932	1,127	1,249	1,243	2,016	2,545	3,793	5,931	7,454
販管費	523	620	572	5,181	7,959	10,966	3,435	3,940	4,377
営業利益	-486	708	866	1,870	1,625	1,378	928	3,775	3,436
経常利益	-528	864	904	1,806	1,107	768	1,622	433	645
当期純利益	-607	756	723	1,366	55	-868	1,479	1,017	382
株主資本利益率	-14.1%	17.2%	14.1%	7.1%	12.8%	7.9%	3.0%	1.9%	0.7%
総資産経常利益率	-11.6%	18.2%	15.7%	8.2%	4.1%	2.4%	2.4%	0.5%	1.1%
営業利益率	-43.9%	25.5%	29.7%	19.1%	12.8%	7.9%	10.5%	21.3%	22.1%
総資産	4,251	5,234	6,258	23,219	30,297	33,907	76,465	96,985	99,417
純資産	4,011	4,788	5,497	12,769	19,266	19,811	52,381	57,468	57,936
株主資本比率	94.1%	91.3%	87.7%	47.4%	62.3%	61.8%	68.5%	59.3%	58.3%
営業CF	-289	366	1,480	1,378	552	393	4,672	7,095	9,952
投資CF	225	-279	-48	570	-261	-4,116	-150	278	1,043
財務CF	-7	-16	-30	801	2,853	-646	20,278	11,123	-4,887
現金	1,394	2,345	3,675	10,322	14,352	11,049	40,008	60,087	66,557
有利子負債	46	39	222	1,747	1,126	537	1,834	1,831	1,831
ネットデット	-1,349	-2,306	-3,453	-8,575	-13,226	-10,512	-38,174	-58,256	-64,726

	ナノキャリア (4571)			カルナバイオサイエンス (4572)			シンバイオ (4582)		
	20年3月期 連結	21年3月期 連結	22年3月期 連結	20年12月期 連結	21年12月期 連結	22年12月期 連結	20年12月期 連結	21年12月期 連結	22年12月期 連結
売上高	553	313	264	1,133	2,018	1,387	2,987	8,257	10,008
売上総利益	475	275	223	941	1,882	1,215	867	5,800	7,600
研究開発費	1,152	1,173	1,530	1,474	1,841	1,882	2,267	1,736	2,555
販管費	506	405	503	1,998	2,413	2,485	5,373	4,784	5,636
営業利益	-1,106	-1,303	-2,061	-1,057	-531	-1,270	-4,506	1,016	1,964
経常利益	-1,144	-1,279	-1,925	-1,077	-523	-1,279	-4,616	1,001	2,000
当期純利益	-2,010	-2,836	-1,882	-1,111	-534	-1,350	-4,090	2,032	1,179
株主資本利益率	-27.8%	-35.2%	-29.1%	-21.1%	-10.2%	-26.4%	-104.7%	39.6%	14.6%
総資産経常利益率	-13.1%	-15.3%	-25.7%	-29.0%	-13.2%	-34.0%	-79.9%	13.6%	19.2%
営業利益率	-200.0%	-415.9%	-780.6%	-93.3%	-26.3%	-91.6%	-150.9%	12.3%	19.6%
総資産	8,945	7,821	7,136	4,835	5,433	4,266	6,275	8,453	10,433
純資産	8,769	7,500	5,567	3,824	4,316	3,642	4,657	6,746	8,506
株主資本比率	97.0%	94.8%	77.6%	79.0%	79.3%	85.0%	74.2%	79.8%	77.6%
営業CF	-1,139	-1,247	-1,753	-1,261	-1,537	-810	-4,122	140	1,614
投資CF	-112	-872	-244	-70	-42	-126	-160	-71	-47

ラクオリア創薬 4579

財務CF	2,162	-11	1,146	724	1,065	367	4,222	-72	628
現金	4,471	3,892	3,545	4,299	3,818	3,379	3,849	3,860	6,283
有利子負債	0	0	1,150	430	540	300	0	0	0
ネットデット	-4,471	-3,892	-2,395	-3,869	-3,278	-3,079	-3,849	-3,860	-6,283
	ペプチドリーム (4587)			ソレイジア・ファーマ (4597)			モダリス (4883)		
	20年12月期	21年12月期	22年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	IFRS連結	IFRS連結	IFRS連結	IFRS連結	IFRS連結	IFRS連結	連結	連結	連結
売上高	11,677	9,422	26,852	454	559	1,092	342	1	41
売上総利益	9,529	7,029	18,113	244	373	662	-	-	-
研究開発費	1,460	1,654	2,915	1,928	845	883	532	1,010	1,862
販管費	1,078	1,355	6,218	2,432	1,948	2,250	208	231	242
営業利益	6,991	4,066	8,980	-4,116	-2,419	-2,470	-398	-1,239	-2,063
経常利益	6,976	3,804	6,653	-4,159	-2,442	-2,492	-440	-1,231	-1,996
当期純利益	4,448	2,573	7,554	-4,127	-2,478	-2,548	-448	-739	-2,703
株主資本利益率	23.4%	11.0%	26.3%	-78.1%	-79.4%	-97.1%	-8.9%	-12.6%	-63.8%
総資産経常利益率	31.6%	14.3%	14.6%	-60.6%	-54.8%	-79.4%	-8.6%	-16.6%	-43.4%
営業利益率	59.9%	43.2%	33.4%	-906.6%	-432.7%	-226.1%	-116.5%	-112,676.7%	-5,094.3%
総資産	26,267	27,035	63,865	5,775	3,144	3,134	6,277	6,069	3,130
純資産	21,217	25,350	32,041	3,652	2,587	2,662	6,207	5,549	2,941
株主資本比率	80.5%	93.8%	50.2%	63.2%	82.3%	84.9%	98.9%	91.4%	93.4%
営業CF	1,733	6,655	-83	-2,789	-2,473	-2,074	-377	-747	-1,896
投資CF	-1,200	-2,283	-27,377	-171	-164	-418	-830	172	-186
財務CF	-237	66	20,789	1,829	361	2,571	2,778	73	64
現金	7,149	11,747	5,248	2,964	714	803	5,421	4,936	2,933
有利子負債	0	0	21,048	1,039	84	37	0	0	0
ネットデット	-7,149	-11,747	15,801	-1,925	-630	-766	-5,421	-4,936	-2,933

出所：各社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。IFRSは税引前利益を経常利益として記載。

SW (Strengths, Weaknesses) 分析

強み (Strengths)

製薬会社基準の研究プロセスや業務手順に基づくイオンチャンネル創薬に注力していること

同社は、前身のファイザー社中央研究所における創薬研究開発のノウハウや手法をEBOにより受け継ぎ、また引き継いだ研究を継続しており、数十万化合物のライブラリーから次々と候補品を生み出すことができる。製薬企業基準の研究プロセスや業務手順に基づく高い技術力により、幅広い疾患を治療できる可能性があるイオンチャンネルをターゲットとした創薬を行って、5本のプロジェクトを早期に導出している。

イオンチャンネルは心臓や脳など生命活動の根幹を担う臓器に広く発現し、その種類は100種類以上存在する。1つのイオンチャンネルを遮断すると、別の場所のイオンチャンネルも同時に遮断されて全身に影響が出るため、選択的な遮断を行わないと副作用が強くなる。化合物のデザインのノウハウと、それを評価するためのスクリーニングを常に行える体制が必要とされるため創薬の難易度が高く、イオンチャンネルをターゲットとした医薬品は、医療用医薬品全体の10%未満にすぎない。同社によれば、参入する企業が少ないニッチな領域となるため、同分野で5つのライセンスを導出している企業は、世界でも同社以外にはない。

同社は上市品4品目、イオンチャンネルを含む導出済プロジェクト10本、導出準備パイプライン6本の豊富な開発パイプラインを有している。創薬ベンチャーの企業価値は一般的にそのパイプラインの価値の総和と考えられるが、同社の企業価値は次々と生み出される候補品に加えて、上市品と導出済プロジェクトにおける国内外の大手企業との提携や共同研究の成果によっても裏付けられている、とSR社は考える。

「特許」を数百件保有すること

同社は継続的に基本特許（物質特許）を出願して世界の主要国において権利化を行っており、地域や有効期限はそれぞれ違うものの、最長で2040年代近くまでの数百の特許（周辺特許を含む）を保有する。基本特許の出願後は特許の延長や周辺特許の出願により、創製した化合物のライフサイクルの延長を図っている。物質特許の有効期間は20年であるが、特許期間延長により最長5年、用途特許や製法特許など周辺特許の出願によりさらに20年の独占排他権の維持が可能となる。もとはファイザー社が出願した特許についても、特許期間の延長と周辺特許の出願によって2030年代半ばまでは特許期間が継続している。

ファイザー社が大規模な再編を行ったのは、全世界で1兆円以上の売上を誇った高脂血症治療薬「リピトール®」の特許の有効期間が切れるため、累計800億円の投資を行って開発していた後継品の失敗によるもので、特許が切れることは製薬会社にとって死活問題である。同社では、新薬の特許が切れた後に、同じ成分、同じ効能・効果を持ち、安価なジェネリック医薬品が販売されるのを先延ばしにすることで、長期にわたる収益の確保を可能にする戦略をとっている。そのためには強い、範囲が広い特許を取得することに加えて、特許の切れ目を作らないための出願のタイミングも重要となる。元ファイザー社の特許担当者が同社に移籍しており、製薬会社のノウハウで特許のライフサイクルマネジメントを行っていることが、同社の強みである。

同社が保有する膨大な数の化合物ライブラリーとSCARAロボットシステムによる効率的な候補化合物の選定を行えること

国内では多くの創薬ベンチャーが設立時の次のシーズをなかなか創出できない中で、同社が候補化合物を次々に創出しているのには理由がある。膨大な数の化合物データベースから日常的に80万化合物のライブラリーをスクリーニングし、SCARA (Selective Compliance Assembly Robot Arm) ロボットシステムを使用することにより、1日に1万化合物の評価を行うことが可能となっているからである。

新薬の種となる新規化合物は、多次元のデータを解析し、経験則および計算科学的手法に基づいてデザインされ、蓄積されたノウハウを基に効率的な合成計画を立案して合成される。同社の化学者によって合成された、不純物を含む合成サンプルは、精製、秤量、溶解、分注の各工程を自動化したCAP (Centralized Analysis & Purification) により、純度を保証された溶液サンプルとして薬理評価者に速やかに供給される。同社によれば、化学者が手動で生成を実施する場合と比較して、約10倍の効率化を実現し、週に150化合物の供給を可能にしている。

化合物に関するすべての情報を二次元バーコードで管理し、データベース化することでSAR* (構造活性相関) 研究を推進している。バーコードで管理された384穴プレートを用いて、ロボットシステムにより正確で迅速な薬理・安全性・代謝試験などが実施され、結果は速やかにデータベースに登録されてデザイン・合成担当者に報告される。上記の研究サイクルは2週間で、同社によれば世界最速の水準である。

弱み (Weaknesses)

創薬モダリティ (創薬手法) が低分子に偏っていること

低分子医薬は化学構造式が決まっており、量産化しやすいことから、一般的にバイオ医薬品よりも低分子医薬品のほうが製造コストを安価に抑えられる。バイオ医薬品は有効成分が成長ホルモン、インスリン、抗体などのタンパク質由来の医薬品で、細胞、酵母、細菌などから製造される。バイオ医薬品の分子は大きくて複雑であり、その特性や性質は製造工程に依存するため、コストが高くなる。そのため新薬として上市される際にはバイオ医薬品のほうが高価となり、市場規模も大きくなる。

同社は上市品4品目、イオンチャネルを含む導出済プロジェクト10本、導出準備パイプライン6本の豊富な開発パイプラインを有しているが、そのすべてが低分子医薬である。新規医薬品は3万分の1の確率でしか上市できないと言われるが、低分子医薬は1つの開発候補化合物を創るのに72カ月程度かかるため、時間とコストがかかる割には市場規模はバイオ医薬品に比べて小さい。バイオ医薬品は、低分子では難しかった標的へのアプローチが可能になったというメリットはあるものの、経口薬を作れないなどのデメリットもあり、2022年における米国FDAの承認件数に占める低分子医薬の割合は59.5%と、依然としてバイオ医薬品よりも多い。

同社は2024年12月期までの中期経営計画で、次世代の成長のため新規モダリティのコンセプト検証を行っており、今後新規モダリティへの挑戦を行うとしているが、バイオ医薬品は開発、製造工程、品質管理が難しく、高度な基盤技術を確立するには時間がかかる、とSR社では認識している。

マイルストーンやロイヤルティはライセンス先の開発の進捗や業績によるため、収益の多寡や時期のコントロールができないこと

同社の収入は、1) 提携契約を締結した時点の「契約一時金」、2) 臨床試験の開始など、パイプラインの進捗に応じた「マイルストーン収入」、3) 共同研究による「研究協力金」、4) 提携対象製品の上市後の売上に応じた「ロイヤルティ収入」である。契約一時金は同社の開発品に対する導出先からの評価であり、協議によって決定する。マイルストーン収入は、導出先の開発の進捗によって遅れる場合もある。研究協力金はほかの収益と比べると少額となる。また、ロイヤルティ収入については導出先の販売に応じた料率で決まるため、同社の収益は導出先のマーケティング力や販売力に依存する。

同社は従来、非臨床準備段階での導出を目指しており、今までの導出実績も開発早期に行ったパイプラインが多い。しかしながら、早期開発段階ではそのパイプラインの医薬品としての上市確率が低いため、契約一時金やマイルストーン収入、販売ロイヤルティの料率が低くなる傾向がある。そのため新経営陣は、研究開発中の新薬候補物質の有効性・効果を動物もしくはヒトに投与することによって確認されるPOC (Proof of Concept) までを自社で行い、将来的なパイプラインの価値の向上を図ることにシフトした。POCを確保するには一般的に20~50億円の投資が必要となる第II相臨床試験まで行う必要があり、従来と比べて多額の資金需要が生じるが、導出先からの入金タイミングと合わなければ、資金調達が必要となる。

研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

同社は製薬会社で研究開発の経験を積んだ研究者を中心に採用を進めており、2022年12月期以降は博士人材の採用を進めて世界のトップ企業と肩を並べられるような体制を作る方針である。しかし、生物薬理研究者は専門性が高く、疾患領域が分かれているため、従来の疼痛・消化器から神経疾患に領域を広げることで、専門的に神経疾患の研究を行ってきた人材の確保が必要となる。文部科学省によると、大学院博士課程（標準5年間）の入学者数は、2003年をピークに減少傾向が続いた。2015年を底に微増傾向となり、2018年は15千人（前年比0.9%増）で、そのうち6千人が保健（医学、歯学、薬学および保健学）専攻であった。また、バイオ創薬は海外が主流であり、国内の研究者は数少ない。同社のニーズにマッチした人材の確保ができるかどうか、同社の将来の成長を左右する、とSR社では考える。

過去の業績と財務諸表

損益計算書

損益計算書 (百万円)	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
事業収益	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776	2,918
前年比	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.7%	-35.0%	150.7%	5.1%
事業費用	2,366	2,276	2,010	1,465	1,570	1,820	1,719	1,593	2,068	2,052
前年比	-11.2%	-3.8%	-11.7%	-27.1%	7.1%	15.9%	-5.5%	-7.3%	29.8%	-0.8%
売上原価	0	3	-	118	150	89	263	138	321	232
前年比	-	731.3%	-	-	27.1%	-40.2%	193.9%	-47.5%	132.4%	-27.8%
研究開発費	1,518	1,480	1,302	796	849	1,075	864	932	1,127	1,249
前年比	-15.9%	-2.5%	-12.0%	-38.9%	6.6%	26.6%	-19.6%	7.9%	20.9%	10.8%
研究開発費比率	665.7%	961.7%	895.2%	112.9%	59.8%	144.3%	50.7%	84.2%	40.6%	42.8%
販売費及び一般管理費	848	794	708	551	572	656	592	523	620	572
前年比	-1.6%	-6.3%	-10.9%	-22.1%	3.7%	14.7%	-9.7%	-11.6%	18.6%	-7.9%
販管費比率	371.7%	515.9%	486.4%	78.2%	40.3%	88.1%	34.8%	47.2%	22.3%	19.6%
営業利益	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708	866
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	22.4%
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	25.5%	29.7%
営業外収益	327	187	99	94	85	45	49	35	177	77
受取利息	1	3	4	13	4	9	9	4	2	1
有価証券利息	-	31	78	52	35	32	35	28	21	13
為替差益	55	27	14	-	1	-	-	-	146	44
複合金融商品評価益	-	20	-	8	-	-	4	1	0	-
有価証券売却益	-	-	1	-	-	-	-	-	-	-
補助金収入	-	-	-	20	44	1	0	2	6	-
受取配当金	-	-	0	-	-	-	-	-	-	-
投資損失引当金戻入額	261	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	10	6	1	2	1	3	1	1	3	6
営業外費用	9	7	29	55	85	35	12	76	21	39
支払利息	-	-	-	-	-	-	-	0	1	6
為替差損	-	-	-	55	-	33	0	76	-	-
株式交付費	8	7	6	-	13	1	12	0	0	16
デリバティブ評価損	-	-	-	-	-	-	-	-	10	-
和解金	-	-	-	-	-	-	-	-	10	-
複合金融商品評価損	-	-	21	-	2	1	-	-	-	11
有価証券償還損	-	-	2	-	-	-	-	-	-	-
その他	1	-	-	-	0	-	-	-	-	-
経常利益	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864	904
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	4.7%
経常利益率	-	-	-	-	-	-	1.3%	-	31.1%	31.0%
特別利益	801	1,549	66	-	21	5	6	9	17	14
固定資産売却益	-	6	-	-	-	-	-	1	-	-
投資有価証券売却益	801	1,544	66	-	18	5	6	8	14	10
投資有価証券償還益	-	-	-	-	-	-	-	-	2	4
特別損失	83	65	119	2	0	18	-	9	-	68
減損損失	58	-	-	-	-	-	-	3	-	-
投資有価証券売却損	-	-	-	-	0	-	-	0	-	-
投資有価証券償還損	-	-	6	2	-	-	-	7	-	-
特別退職金	-	10	69	-	-	-	-	-	-	-
事務所移転費用	-	54	43	-	-	-	-	-	-	-
貸借契約解約損	24	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	1	-	-	-	-	-	-	-	-	-
法人税等	6	7	6	5	-2	26	22	79	125	128
税率	-0.6%	-1.5%	-0.3%	-0.7%	2.9%	-2.4%	80.4%	-15.0%	14.2%	15.0%
親会社株主に帰属する当期純利益	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756	723
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-4.3%
純利益率	-	-	-	-	-	-	0.3%	-	27.2%	24.8%

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

同社は2008年6月に米国ファイザー社から、探索段階および開発段階の複数のプロジェクトに関して知的財産権を譲受した。同社が譲受した化合物の権利を他社に導出する場合、同社はファイザー社に対して導出によって得られる収益（契約一時金収入、マイルストーン収入およびロイヤリティ収入等）に一定の料率を乗じた金額をロイヤリティとして支払い、事業原価に計上する。

同社のライセンス導出先から得られる契約一時金、マイルストーン収入および販売ロイヤリティは、その多くが米ドル建てであるため、為替の動向によって毎期ある程度の為替損益が発生し、業績の変動要因となっている。

貸借対照表

貸借対照表 (百万円)	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
資産										
現金及び預金	4,035	1,891	1,840	1,428	2,268	1,671	2,174	1,394	2,345	3,675
受取手形及び売掛金	60	20	73	58	449	1	747	531	1,205	602
有価証券	-	1,184	503	9	329	168	26	719	314	251
たな卸資産	47	9	7	7	5	6	6	7	11	9
前渡金	-	58	179	205	190	9	6	36	16	90

前払費用	55	65	56	62	72	69	50	90	109	
その他	222	43	40	43	20	35	39	97	22	87
流動資産合計	4,364	3,261	2,708	1,806	3,322	1,962	3,067	2,834	4,004	4,822
建物及び構築物	83	80	140	141	142	143	143	153	154	154
工具、器具及び備品	370	349	394	452	488	677	742	872	944	964
リース資産						3	3	49	60	255
減価償却累計額	-464	-363	-273	-344	-415	-505	-639	-741	-859	-982
機械装置及び運搬具	17	2								
有形固定資産合計	7	85	261	249	216	318	249	333	299	391
商標権	4	3	2	6	5	5	5	4	4	4
ソフトウェア		6	8	7	4	28	27	28	29	20
その他	8	3	4	0	-	1	1	1	1	0
無形固定資産合計	12	12	14	13	10	34	32	33	34	24
投資有価証券	2,221	1,800	1,752	1,937	1,503	1,717	1,474	1,038	888	988
長期前払費用		4	5	3	2	10	2	0	0	24
繰延税金資産								3	-	
その他	45	39	12	11	11	12	12	10	9	8
投資その他の資産合計	2,266	1,844	1,769	1,951	1,516	1,738	1,488	1,051	897	1,020
固定資産合計	2,284	1,941	2,044	2,213	1,742	2,090	1,769	1,417	1,230	1,436
資産合計	6,648	5,202	4,752	4,019	5,064	4,052	4,837	4,251	5,234	6,258
負債										
支払手形及び買掛金					2		34	42	46	128
短期有利子負債	-	-	-	-	-	1	1	18	22	46
未払金	142	119	123	126	63	99	67	53	113	206
未払費用		63	57	40	44	48	50	50	63	60
未払法人税等	17	16	15	1	21	14	20	21	80	31
未払消費税等					14			-	37	
繰延税金負債				1						
前受金		14		14	1		7			
預り金		5	5	3	4	3	3	3	29	19
その他	74	46	-	5	-	-	-	-	10	4
流動負債合計	233	262	200	190	149	164	183	187	401	494
長期有利子負債	-	-	-	-	-	2	2	27	18	177
資産除去債務			12	12	12	12	12	12	12	12
繰延税金負債	669	109	26	29	16	16	19	14	16	3
その他	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
固定負債合計	669	109	38	41	27	31	33	53	46	267
負債合計	902	371	238	231	176	195	216	240	446	761
純資産										
資本金	8,628	8,952	9,806	2,238	2,741	2,793	2,255	2,255	2,257	2,266
資本剰余金	3,912	4,236	5,090	2,238	2,931	2,983	2,445	2,445	2,447	2,455
利益剰余金	-8,074	-8,567	-10,421	-728	-786	-1,890	-99	-706	50	773
新株予約権	33	11	11	15	17	13	12	12	11	8
純資産合計	5,746	4,831	4,514	3,788	4,888	3,857	4,621	4,011	4,788	5,497
負債純資産合計	6,648	5,202	4,752	4,019	5,064	4,052	4,837	4,251	5,234	6,258
運転資金	107	29	80	65	452	7	718	496	1,170	483
有利子負債合計	-	-	-	-	-	3	2	46	39	222
ネット・デット	-4,035	-1,891	-1,840	-1,428	-2,268	-1,668	-2,172	-1,349	-2,306	-3,453

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

キャッシュフロー計算書

キャッシュフロー計算書	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
(百万円)	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
営業活動によるキャッシュフロー(1)	-2,179	-2,081	-2,117	-681	-307	-404	-531	-289	366	1,480
税金等調整前当期純利益	-1,102	-632	-1,848	-723	-60	-1,078	27	-528	881	851
減価償却費	68	21	53	80	86	126	140	124	142	148
減損損失								3	-	-
固定資産売却損益・処分損								-1	-	-
運転資本の増減	-50	78	-51	15	-377	445	-711	223	-674	687
投資活動によるキャッシュフロー(2)	952	-796	666	-441	534	-368	216	225	-279	-48
有形及び無形固定資産の取得による支出	-26	-101	-200	-37	-88	-221	-94	-156	-105	-32
有形及び無形固定資産の売却による収入	4	2						1	-	-
FCF (1+2)	-1,227	-2,877	-1,451	-1,122	226	-772	-315	-64	87	1,432
財務活動によるキャッシュフロー	309	762	1,702	-	1,007	99	696	-7	-16	-30
短期借入金の純増減額								-	-	-
長期借入金の純増減額	-	-	-	-	-	-	-	-	-	12
社債の発行と償還の合計	-	140	-	-	-	-	-	-	-	-
新株予約権の行使による株式の発行による収入	272	640	1,686		996	100	692	0	2	4
新株予約権の発行による収入	38	15	15		11		4			
リース債務の返済による支出						-1	-1	-7	-18	-45
現金及び現金同等物の増減（は減少）	-855	-2,031	252	-999	1,229	-644	371	-139	179	1,439
現金及び現金同等物の期末残高	4,035	2,004	2,243	1,244	2,474	1,830	2,200	2,061	2,241	3,679

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

営業活動によるキャッシュフロー

2022年12月期に営業活動により獲得した資金は、2021年12月期（366百万円のプラス）に比べて1,114百万円増加し、1,480百万円となった。これは主に、税金等調整前当期純利益851百万円および減価償却費148百万円を計上したほか、売上債権の減少603百万円による。

投資活動によるキャッシュフロー

2022年12月期に投資活動により使用した資金は、2021年12月期（279百万円のマイナス）に比べて231百万円減少し、48百万円となった。これは主に、有価証券取得による支出651百万円、投資有価証券の売却による収入315百万円、投資有価証券の償還による収入210百万円による。

財務活動によるキャッシュフロー

2022年12月期に財務活動により使用した資金は、2021年12月期（16百万円のマイナス）に比べて13百万円増加し、30百万円となった。これは主に、リース債務の返済による支出45百万円による。

過去の業績

2023年12月期第1四半期実績（2023年5月15日発表）

業績概要

2023年12月期第1四半期（2023年1月～3月）累計実績

- 売上高：370百万円（前年同期比9.2%増）
- 営業損失：109百万円（前年同期120百万円の損失）
- 経常損失：110百万円（同70百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：148百万円（同121百万円の損失）
- 研究開発費：268百万円（同1.7%増）

2023年12月期連結業績予想に対する進捗率は、売上高13.2%、研究開発費16.0%であった。

増収と損失計上の要因

当第1四半期は、テゴブラザンおよび動物薬の販売ロイヤルティが350百万円（前年同期比90.2%増）、その他収益が20百万円（同87.1%減）となった。前期まではHKイノエン社からのロイヤルティの受領は半期ごとであり、前年同期にはELURA®の欧州申請の一時金115百万円を受領したが当第1四半期にはなかったことから、単純比較はできないものの、同9.2%増収となった。

ペット用医薬品は、GALLIPRANT®、ENTYCE®/ELURA®の売上が堅調に推移し、ロイヤルティ収入が増加した。

テゴブラザン（K-CAB®）は、口腔内崩壊錠が発売され、5つ目の適応症（びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法）が承認されたこともあり、韓国における売上が引き続き好調であった。韓国における累計売上高（処方実績）は357億ウォン（約3,570百万円、前年同期比15.2%増）となった。

また、HKイノエン社のライセンス先である企業が、それぞれの国・地域で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。当第1四半期末において、韓国を含む36カ国に進出済みであり、韓国、中国、フィリピン、モンゴルの4カ国においてテゴブラザン製品が販売されている。シンガポールおよびメキシコにおいて、サブライセンス先が現地の規制当局から販売承認を取得したことに伴い、同社はHKイノエン社との契約に基づき、一時金を受領した。

事業費用の総額は479百万円（前年同期比4.4%増）、うち研究開発費は同5百万円増加して268百万円（同1.7%増）、その他販売費及び一般管理費は152百万円（同6.6%増）となった。研究開発費は、探索研究を軸として、グレリンの前臨床試験および臨床試験用原薬製造に向けた取り組みを進めている。

パイプラインの状況

上市済4製品のロイヤルティは好調

ペット用医薬品の状況

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT®（一般名：グラピプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE®（一般名：カプロモレリン）、および慢性腎不全の猫の体重減少管理の適応を持つELURA®（一般名：カプロモレリン）の売上高は、前期に引き続き堅調に推移している。米国で販売中のELURA®は欧州において2022年2月に承認申請を行い、承認審査が継続中である。

テゴプラザンの世界各国における展開

HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB[®]」の当第1四半期における売上（院外処方データ）は、357億ウォン（前年同期比15.2%増、約3,500百万円、1韓国ウォン0.1円換算）と引き続き好調に推移した。HKイノエン社は韓国において、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法向けに、テゴプラザンの含有量を既存製剤の半分に減らした新製剤「K-CAB[®]錠 25mg」を発売した。これにより、K-CAB[®]は韓国で販売されているカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）系胃酸分泌抑制剤の中で、唯一、びらん性胃食道逆流症の発症時から治療後のすべての段階で使用できる薬剤となった。口腔内崩壊錠（OD錠、売上割合14%）が順調にシェアを拡大しており、同社によれば、K-CAB[®]の市場シェアは12%で第1位である。

HKイノエン社は100カ国を目標にグローバル展開を進めており、サブライセンス先が次々と承認取得、製品販売を進めている。中国において、2022年4月にShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）により販売が開始されたテゴプラザン（商品名：泰欣贊[®]（タイシンザン））については、2023年3月から公的医療保険である国家基本医療保険の償還対象となることが決定した。従来は公的医療保険の償還対象ではなく、全額が患者の自己負担となっていたが、対象となったことで今後の売上高の拡大を同社は期待している。

テゴプラザンのグローバル展開

国・地域	導出先	販売・開発状況	進捗	市場規模 (百万円)
韓国	HKイノエン社	販売中（2019年～）	販売伸長	100,000
中国	Luoxin社	経口剤：販売中（2022年5月～） 注射剤：開発中	新発売	410,000
フィリピン	MPPI社	販売中（2022年11月～）	新発売	8,000
モンゴル	Monos社	販売中（2022年10月～）	新発売	-
インドネシア	Kelbe社	発売準備中	承認取得	20,000
シンガポール	UITC社	発売準備中	承認取得	1,600
タイ、ベトナム、マレーシア	Pond's社、Lyhn farma社、Pharmaniaga社	承認審査中		27,000
メキシコなど中南米17カ国	Carnot社	メキシコで承認（2023年2月） その他16カ国では承認審査中	承認取得	57,000
インドなど7カ国	Dr. Reddy社	申請準備中／開発準備中	契約締結	130,000
米国	Braintree社	フェーズ3試験実施中（2022年～）	後期臨床	370,000
ブラジル	Eurofarma社	申請準備中／開発準備中	契約締結	80,000

出所：会社資料よりSR社作成

*導出先はHKイノエン社からのサブライセンス先を含む。市場規模は2021年末時点。

導出済・導出準備パイプラインの状況

導出済プログラム

導出済プログラムについては、導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

当第1四半期においては、同社が株式会社AskAt（非上場、以下、AskAt社）に導出し、AskAt社からOxford Cannabinoid Technologies Ltd.（OCTP、LSE、以下、OCT社）にライセンスされたカンナビノイドCB2受容体作動薬（RQ-00202730/AAT-730/OCT46120）について、OCT社が英国の規制当局および倫理審査委員会に対して、第1相臨床試験実施に係る治験申請を行った。

導出準備プログラム

導出準備プログラムは、前期に引き続き自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験が進行しているほか、日本国内におけるテゴプラザンの速やかな上市を目指し、自社による臨床試験の実施を見送り、導出活動に専念することとして、提携先候補企業との協議を進めている。その他の導出準備プログラムについても、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせ、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

探索研究段階

探索研究段階では、前期に引き続き開発化合物の創出および創薬研究基盤の強化を目指して、共同研究ならびに自社による単独研究の取り組みを進めた。さらに、創薬バリューチェーンとポートフォリオのさらなる充実化を図るため、湘南ヘルスイノベーションパーク（神奈川県藤沢市、以下、湘南HIP）に新たな研究拠点を設置した。湘南HIPにおいては、新規モダリティ、標的分子探索、AOの創薬応用などに関する最先端の知見や技術を保有する企業との協業機会を得るべく活動を行っている。

子会社テムリック社における状況

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした第Ⅲ相臨床試験と、急性骨髄性白血病（AML）を対象とした第Ⅱ相臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。タミバロテンは2023年1月、米国食品医薬局（Food and Drug Administration、以下、FDA）から高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）

を対象とした、ファストトラック指定を受けた。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換をより頻繁に行うことができ、さらに臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速審査の対象となる可能性がある。

また、切除不能のすい臓がんに対する医師主導治験（フェーズ1/2）が名古屋大学消化器内科学および東京大学消化器内科学において進行中であり、後続品の探索に関する検討も開始した。

シロス社におけるタミバロテンの開発状況

適応症	開発段階	オーファンドラッグ指定	進捗・見通し
急性骨髄性白血病（AML）	フェーズ2（米国）	米国：指定済 欧州：指定済	2023年Q4に無作為化試験パートの結果発表
骨髄異形成症候群（MDS）	フェーズ3（米国）	米国：指定済 欧州：肯定的意見	2024年Q3に結果発表 2024年に承認申請

出所：会社資料よりSR社作成

第16回新株予約権の発行

同社は、2024年12月までの中期経営計画に示した探索研究投資および前臨床・臨床開発試験などに、合計2,393百万円（それぞれ1,172百万円および1,221百万円、人件費含まず）の研究開発投資を必要としていた。この計画に加えて、研究開発の質・量をさらに高めて進展を加速するには、新規モダリティの探索活動やAI創薬関連投資のほか、ラボの設備強化などに、今後5年間で約2,800百万円の追加投資が必要と見込んでいる。同社の手元資金など（約4,000百万円）や蓋然性の高い収入では不足するため、開発投資に充当する新たな資金確保が必要と判断した。第三者割当による新株式および新株予約権による資金調達については、2023年1月5日払い込み手続きが完了した。

2022年12月期通期実績（2023年2月14日発表）

業績概要

2022年12月期通期（2022年1月～12月）累計実績

- 売上高：2,918百万円（前期比5.1%増）
- 営業利益：866百万円（同22.4%増）
- 経常利益：904百万円（同4.7%増）
- 親会社株主に帰属する当期純利益：723百万円（同4.3%減）
- 研究開発費：1,249百万円（同10.8%増）

上方修正後の2022年12月期連結業績予想（2022年11月17日付発表）に対する達成率は、売上高94.9%、営業利益105.1%、経常利益99.5%、当期純利益99.9%であった。事業費用の総額は2,052百万円（前期比0.8%減）、うち研究開発費は同122百万円増加して1,249百万円（同10.8%増）、その他販売費及び一般管理費は803百万円（同14.7%減）となった。

事業収益の内訳

2022年12月期のロイヤルティ収入は1,487百万円（期初計画比6.4%増）、契約一時金やマイルストーンなどのその他の収入は、1,431百万円（同18.6%増）となった。

ペット用医薬品は、GALLIPRANT®、ENTYCE®/ELURA®の売上が堅調に推移し、ロイヤルティ収入が増加した。

テゴプラザン（K-CAB®）は、口腔内崩壊錠が発売され、5つ目の適応症（びらん性胃食道逆流症治癒後の維持療法）が承認されたこともあり、韓国における売上が引き続き好調であった。HKイノエン社のライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）が中国において製造販売承認を取得して販売を開始した。フィリピンにおいても、Metro Pharma Philippines, Inc.（非上場、以下、Metro社）が承認を取得、販売を開始した。

また、同社がAskAt社に導出したシクロオキシゲナーゼ阻害薬（COX-2阻害薬）について、AskAt社が米国のVelo-1, Inc.（非上場、以下、Velo-1社）との間でライセンス契約および開発サポート契約を締結し、同社は一時金を受領した。同社と旭化成ファーマ株式会社（非上場、旭化成株式会社（東証PRM 3407）傘下、以下、旭化成ファーマ社）との共同研究から創出されたP2X7受容体拮抗薬は、旭化成ファーマのサブライセンス先であるリリー社が第II相臨床試験を開始し、同社は一時金を受領した。

増収増益の要因

事業収益については、マイルストンの収入は増加したものの、新規導出契約の締結がなく、契約一時金の受領はなかった。また、為替レートは110.00円の計画に対して134.25円となり、円安による事業収益への影響は323百万円であった。事業費用については開発スケジュールの変更に伴い開発費が160百万円減少、研究投資の前倒しに伴う減価償却費が30百万円増加したことから、期初予想を132百万円下回り、前期比0.8%減となった。

2022年12月に受領したマイルストーン・一時金収入

- エランコ社から、ELLURA[®]の欧州における承認申請に伴うマイルストーン収入115百万円
- HKイノエン社から、中国におけるテゴプラザンの承認・発売の一時金収入300百万円
- HKイノエン社から、ブラジルのサブライセンス契約締結による一時金
- AskAt社から、米国Velo-1社とのライセンス契約および開発サポート契約による一時金
- 旭化成ファーマ社から、リリー社がP2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験を開始したことによる一時金

パイプラインの状況

上市済4製品のロイヤルティは好調

ペット用医薬品の状況

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT[®]（一般名：グラビプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE[®]（一般名：カプロモレリン）の売上高は、ともに増加した。カプロモレリンは慢性腎疾患のネコの体重減少を管理する薬ELURA[®]としても、エランコ社が米国で販売している。エランコ社は米国に引き続き欧州においても製造販売承認の申請を行い、同社は第1四半期（2022年1月～3月）にマイルストーン達成に伴う一時金1百万米ドルを受領した。同社によれば、GALLIPRANT[®]は2017年の販売開始から5年が経過した現在も2桁成長を続け、売上を拡大している。ペット用医薬品は基本的に自由診療で薬価制度が存在しないため、飼い主の評価が高い製品は、メーカーの価格決定力が強いことが特徴である。このような背景から、同社が受け取る販売ロイヤルティ収入が増加した。

テゴプラザンの世界各国における展開

HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB[®]」の当期における売上（院外処方データ）は、1,252億ウォン（前期比14.2%増、約12,520百万円、1韓国ウォン0.1円換算）と引き続き好調に推移した。HKイノエン社は、2022年7月に韓国においてびらん性胃食道逆流症治療後の維持療法にかかる製造販売承認を取得した。これにより、韓国において製造販売承認を得ている適応症は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法の5つとなった。K-CAB[®]は韓国で販売されているP-CAB系胃酸分泌抑制剤の中で、最多の適応疾患を持つ薬剤となった。

HKイノエン社は100カ国を目標にグローバル展開を進めており、2023年2月現在36カ国に進出し、サブライセンス先が次々と承認取得、製品販売を開始している。今後2年間で、販売地域がさらに増加する見込みである。

2022年4月にLuoxin社により行われたテゴプラザンの承認申請が中国当局に承認され、それからわずか15日でテゴプラザン（商品名：泰欣赞[®]（タイシンザン））の販売を開始した。中国では、革新的な医薬品を表す「分類1」での承認を取得し、主要な病院、小売薬局、インターネットで販売中である。2023年1月には国家医療保険償還医薬品リスト（NRDL）に記載された。販売元となるLuoxin社の2023年の売上目標は10億元（約19,600百万円、1中国元=19.6円換算）、中長期的には30億元（約58,800百万円、同）となっている。保険償還対象となったことで、処方枚数の増加による売上拡大を同社は期待している。

2022年5月には、Metro Pharma Philippines, Inc.（非上場、以下、Metro社）がフィリピンで承認を取得、製品販売を開始した。インドネシアにおいても同年10月、PT Kalbe Pharma Tbk（KLBF、以下、Kable社）が非びらん性胃食道逆流症を適応症として販売承認を取得した。このほか28カ国において、現在審査中、または承認申請準備中の段階にある。

HKイノエン社はその他の地域におけるサブライセンス先の探索を進めており、2022年2月にマレーシア国内最大規模の医薬品関連企業、Pharmaniaga Logistics Sdn Bhd（PHARMA 7081、以下、Pharmaniaga社）とマレーシアにおける製剤供給契約を、同年5月にDr.Reddy's Laboratories（DRREDDY、NSE、以下、Reddy社）とインドを含む7カ国のライセンス契約を締結した。

一時金を受領

2022年7月には、同社が創出したシクロオキシゲナーゼ-2（COX-2）阻害剤（RQ-00317076）の導出先であるAskAt社が、米国Velo-1社と全世界を対象とした動物用医薬品のライセンス契約および2年間の開発サポート契約を締結した。

同社はAskAt社がRQ-00317076から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有しており、本件に伴い一時金を受領して第3四半期の事業収益として計上された。

2022年11月には、P2X7受容体拮抗薬の導出先である旭化成ファーマ株式会社（非上場、旭化成株式会社（東証PRM 3407）傘下、以下、旭化成ファーマ社）のサブライセンス先のリリー社が慢性疼痛患者を対象とした第II相臨床試験を開始し、マイルストーンを達成した。これに伴い、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドル（約500百万円、1米ドル125円換算）を受領した。P2X7受容体拮抗薬は1兆円を超える市場規模でファーストインクラスを目指しており、同社は第II相臨床試験の開始を大きな進歩としている。同社は旭化成ファーマ社とのライセンス契約に基づき、P2X7受容体拮抗薬の開発段階に応じたマイルストーンおよび上市後は販売額に応じたロイヤルティとして旭化成ファーマ社が得た収益に対して、一定料率のロイヤルティを受領する権利を有している。

導出済・導出準備パイプラインの状況

導出済プログラムについては、導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。2021年にXgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）に導出したTRPM8遮断薬について、Xgene社が前臨床試験を実施している。

導出準備プログラムは、自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験が進行しているほか、日本国内におけるテゴプラザンの速やかな上市を目指し、臨床開発の準備および提携先候補の探索に関する取り組みを進めている。

探索研究段階では、あすか製薬株式会社（非上場、あすか製薬ホールディングス株式会社（東証PRM 4886）傘下、以下、あすか製薬社）との共同研究が着実に進んでいるほか、自社のプロジェクトにおいて開発候補化合物創出に向けた取り組みを進めている。

2022年5月、ソシウム株式会社（非上場、以下、ソシウム社）との間で、同社が保有する特定の化合物に対し、ソシウム社独自の疾患データベースおよびAI創薬プラットフォームを用いて、難病・希少疾患への適応可能性の探索を開始した。第3四半期には、STAND Therapeutics株式会社（非上場、以下、STAND社）と共同研究契約を締結し、同社が保有するイオンチャネル創薬技術とSTAND社が保有する細胞内抗体の作製技術を活用、難病・希少疾患治療薬の創製を目指した協業を開始した。同年12月には株式会社Veritas In Silico（非上場、以下、Veritas In Silico社）、株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所（東証GRT 4576、以下、DWTI社）との共同研究を開始した。

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体 α 作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。タミバロテンは2023年1月、米国食品医薬局（Food and Drug Administration、以下、FDA）から高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象とした、ファストトラック指定を受けた。

テゴプラザンは米国で第II相臨床試験をスキップ

2022年10月、HKイノエン社のサブライセンス先であるBraintree社が米国において、びらん性胃食道逆流症患者および非びらん性胃食道逆流症患者を対象とした第III相臨床試験を開始した。Braintree社は米国FDA（U.S. Food and Drug Administration）と協議し、第II相臨床試験を経ずに第III相臨床試験を行うことについて同意を得た。FDAに認可された臨床試験計画に従って患者の組入れが行われ、最初の被験者への投与が行われた。

第III相臨床試験では、対照薬にPPI（Proton Pump Inhibitors：プロトンポンプ阻害剤）を用いて、テゴプラザンの有効性と安全性が評価される。同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、米国での開発及び販売に関して、開発段階の進展に応じたマイルストーンおよび一定料率の販売ロイヤルティを受け取る権利を保有している。第III相臨床試験の開始に伴って同社が受け取る一時金はないものの、テゴプラザンの米国での発売時期の前倒しが生じれば、同社の中長期の業績拡大に寄与する、と同社はみている。

第16回新株予約権の発行

同社は、2024年12月までの中期経営計画に示した探索研究投資および前臨床・臨床開発試験などに、合計2,393百万円（それぞれ1,172百万円および1,221百万円、人件費含まず）の研究開発投資を必要としていた。この計画に加えて、研究開発の質・量をさらに高めて進展を加速するには、新規モダリティの探索活動やAI創薬関連投資のほか、ラボの設備強化などに、今後5年間で約2,800百万円の追加投資が必要と見込んでいる。同社の手元資金など（約4,000百万円）や蓋然性の高い収入では不足するため、開発投資に充当する新たな資金確保が必要と判断し、第三者割当による新株および新株予約権による資金調達を行うこととした。

2022年12月期第3四半期累計実績（2022年11月11日発表）

業績概要

2022年12月期第3四半期（2022年1月～9月）累計実績

- 事業収益：1,904百万円（前年同期比17.3%増）
- 営業利益：501百万円（同367.6%増）
- 経常利益：676百万円（同183.8%増）
- 親会社株主に帰属する四半期純利益：467百万円（同175.9%増）
- 研究開発費：840百万円（同7.6%増）

2022年12月期の連結業績予想に対する進捗率は、事業収益73.1%、営業利益119.3%、経常利益161.1%、四半期純利益136.6%（同年11月17日付の修正後予想に対する進捗率は、事業収益61.9%、営業利益60.8%、経常利益74.4%、四半期純利益64.5%）であった。

増収増益の要因

当第3四半期累計期間の事業収益は、ロイヤルティ収入1,083百万円（前年同期比69.2%増）、その他の収益820百万円（同16.6%減）、計1,904百万円（同17.3%増）となった。

ペット用医薬品は、GALLIPRANT[®]、ENTYCE[®]/ELURA[®]の売上が堅調に推移した。テゴプラザン（K-CAB[®]）は、口腔内崩壊錠が発売され、5つ目の適応症（びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法）が承認されたこともあり、韓国における売上が引き続き好調であった。HKイノエン社のライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）が中国において製造販売承認を取得して販売を開始した。また、同社がAskAt社に導出したシクロオキシゲナーゼ阻害薬（COX-2阻害薬）について、AskAt社が米国のVelo-1, Inc.（非上場、以下、Velo-1社）との間でライセンス契約および開発サポート契約を締結し、同社は一時金を受領した。

事業費用の総額は1,403百万円（前年同期比7.4%減）、うち研究開発費は同60百万円増加して840百万円（同7.6%増）、その他販売費及び一般管理費は395百万円（同15.3%減）となった。計画に対する研究開発費の進捗率は57.0%で、研究開発活動の状況に重要な変更はなかった。

パイプラインの状況

上市品の状況

ペット用医薬品については、エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT[®]（一般名：グラビプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE[®]（一般名：カプロモレリン）の売上高は、ともに増加した。カプロモレリンは慢性腎疾患のネコの体重減少を管理する薬ELURA[®]としても、エランコ社が米国で販売している。エランコ社は米国に引き続き欧州においても製造販売承認の申請を行い、同社は第1四半期（2022年1月～3月）にマイルストーン達成に伴う一時金1百万米ドルを受領した。同社によれば、GALLIPRANT[®]は2017年の販売開始から5年が経過した現在も、売上を拡大し続けている。

テゴプラザンの世界各国における展開

HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB[®]」の当第3四半期における売上は、316億ウォン（前年同期比12.5%増）と引き続き好調に推移し、2022年12月期の累計売上高は922億ウォン（同18.1%増）となった（いずれも院外処方データ）。HKイノエン社は、同年7月に韓国においてびらん性胃食道逆流症治療後の維持療法にかかる製造販売承認を取得した。これにより、韓国において製造販売承認を得ている適応症は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法の5つとなった。

中国において、HKイノエン社のライセンス先であるLuoxin社が2022年4月に販売を開始し、保険収載を目指した取り組みが進行中である。モンゴルおよびフィリピンで発売に向けた準備が進行しているほか、インドネシア、タイ、メキシコを含む29か国において承認審査中、または承認申請準備中となっている。

導出済パイプライン（開発中）の状況

導出済プログラムについては、導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

導出済プログラム（ヒト）

- テゴプラザン：韓国と中国で発売中。モンゴル、フィリピン、インドネシアで販売準備中。米国ではBraintree社が第III相臨床試験を開始
- EP4拮抗薬：AskAt社の導出先であるIkena Oncology（IKNA、NASDAQ、以下、Ikena社）が臨床試験を実施していたが、2022年12月に開発中止を決定
- CB2作動薬：AskAt社の導出先である英国OCT社が前臨床試験を実施中
- 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬：マルホ社にて引き続き開発中
- P2X7受容体拮抗薬：リリー社が第II相臨床試験を開始（2022年11月）
- 特定のイオンチャンネル：EAファーマ株式会社（非上場、旧・味の素製薬株式会社、エーザイ株式会社（東証PRM 4523）連結子会社、以下、EAファーマ社）で引き続き開発中
- TRPM8遮断薬：Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）が前臨床試験を実施中
- ナトリウムチャンネル遮断薬：久光製薬社が前臨床試験を準備中

導出済プログラム（ペット）

- COX-2阻害薬：AskAt社の導出先であるVelo-1社が開発準備中

導出準備パイプラインの状況

導出準備プログラムは、自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験が進行しているほか、日本国内におけるテゴプラザンの速やかな上市を目指し、臨床開発の準備および提携先候補の探索に関する取り組みを進めている。

- テゴプラザン（日本）：臨床開発に向けた準備および提携先候補の探索に関する取り組みを実施
- グレリン受容体作動薬：外部委託による前臨床試験を実施中
- 5-HT4部分作動薬、5-HT2B拮抗薬、モチリン受容体作動薬：導出活動を継続中
- TRPM8遮断薬：前臨床試験検討中

探索研究段階では、あすか製薬株式会社（非上場、あすか製薬ホールディングス株式会社（東証PRM 4886）傘下、以下、あすか製薬社）との共同研究が着実に進んでいるほか、自社のプロジェクトにおいて開発候補化合物創出に向けた取り組みを進めている。当第3四半期には、STAND Therapeutics株式会社（非上場、以下、STAND社）と共同研究契約を締結した。同社が保有するイオンチャンネル創薬技術とSTAND社が保有する細胞内抗体の作製技術を活用し、難病・希少疾患治療薬の創製を目指した協業を開始した。

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）と急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。なお、急性骨髄性白血病（AML）については、シロス社が2022年11月に、第II相臨床試験の安全性導入パートのデータに基づき、無作為化試験パートに進むことを表明した。

2022年12月期第2四半期累計実績（2022年8月15日発表）

業績概要

2022年12月期第2四半期（2022年1月～6月）累計実績

- 事業収益：1,447百万円（前年同期比9.6%増）
- 営業利益：551百万円（同75.1%増）
- 経常利益：681百万円（同57.4%増）
- 親会社株主に帰属する四半期純利益：469百万円（同55.0%増）
- 研究開発費：497百万円（同0.0%増）
- 進捗率：事業収益55.6%、営業利益131.3%、経常利益162.2%、四半期純利益137.3%

増収増益の要因

当第2四半期累計期間の事業収益は、ロイヤルティ収入699百万円（前年同期比43.2%増）、中国におけるテゴブラザンの承認・発売の一時金300百万円を含むマイルストーン収入434百万円（同42.0%減）、その他の収益314百万円（同273.8%増）を加え、1,447百万円（同9.6%増）となった。

ペット用医薬品は、GALLIPRANT[®]が欧州では天候等の影響で足踏みとなったものの、米国では二けた成長を維持し、ENTYCE[®]/ELURA[®]も堅調に推移した。テゴブラザン（K-CAB[®]）は、口腔内崩壊錠が発売され、5つ目の適応症（びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法）が承認されたこともあり、韓国における売上が引き続き好調であった。また中国において、HKイノエン社のライセンス先であるLuoxin社が中国において製造販売承認を取得して販売を開始し、マイルストーン収入300百万円を受領した。

研究開発費は、開発候補化合物創出に向けた取り組みで481百万円、グレリン受容体作動薬の前臨床試験とテゴブラザンの臨床薬理試験準備に46百万円を計上し、計528百万円（前年同期比6.4%増、進捗率35.8%）となった。各段階利益の進捗率では既に今期計画を達成しているものの、下期に研究開発費など費用の発生を見込んでおり、業績予想は修正していない。

パイプラインの状況

上市品の状況

ペット用医薬品については、エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT[®]（一般名：グラピプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE[®]（一般名：カプロモレリン）の売上高は、ともに増加した。カプロモレリンは慢性腎疾患のネコの体重減少を管理する薬ELURA[®]としても、エランコ社が米国で販売している。エランコ社は米国に引き続き欧州においても製造販売承認の申請を行い、同社は第1四半期（2022年1月~3月）にマイルストーン達成に伴う一時金1百万米ドルを受領した。

テゴブラザンの世界各国における展開

HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB[®]」の売上は、606億ウォン（約6,000百万円、0.10円換算、前年同期比21.1%増）と引き続き好調に推移した。HKイノエン社はK-CAB[®]の新たな剤形である口腔内崩壊錠の製造販売承認を取得、発売した。また、中国においてHKイノエン社のライセンス先であるLuoxin社が、2022年4月に中国当局から製造販売承認を取得、同年同月に販売を開始した。Luoxin社は、2023年に10億元（約19,600百万円、19.6円/元換算）、中長期では30億元（約58,800百万円、同）を売上目標としている。同社はHKイノエン社の収益確定を受けて、売上に応じたロイヤルティをHKイノエン社を介して受領することになっている。

2022年4月、HKイノエン社は米国における第Ⅰ相臨床試験を完了し、サブライセンス先のBraintree社が、年内の臨床試験開始を目指して米国FDAと治験前相談を実施した。また、同年5月にHKイノエン社はインドのDr.Reddy's Laboratories（DRREDDY、NSE、以下、Reddy社）との間で、インドを含めアジア、東欧およびアフリカに所在する7か国を対象としたライセンス契約を締結した。さらに、同年5月、フィリピンにおいてHKイノエン社のサブライセンス先であるMetro社が、びらん性胃食道逆流症をはじめとする4つの適応症で販売承認を取得した。

導出済パイプラインの状況

導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

- ▶ EP4拮抗薬：導出先のAskAt社のライセンス先である米国Ikena Oncology（IKNA、NASDAQ、以下、Ikena社）が、米国においてがん免疫治療薬として第Ⅰ相拡大臨床試験（フェーズ1b）を実施中。中国では、同じくAskAt社のライセンス先であるNingbo NewBay Medical Technology Development Co., Ltd.（非上場、以下、NewBay社）が、がん領域で第Ⅰ相臨床試験を実施中。
- ▶ CB2作動薬：AskAt社の導出先である英国OCT社が、英国において前臨床試験を実施中。
- ▶ P2X7受容体拮抗薬：米国リリー社が第Ⅱ相臨床試験を準備中。
- ▶ TRPM8遮断薬：香港Xgene社が前臨床試験を開始。
- ▶ ナトリウムチャンネル遮断薬：久光製薬社が前臨床試験を準備中。

このほか、開発段階は非開示となっているが、選択的ナトリウムチャンネル遮断薬をマルホ株式会社（非上場、以下、マルホ社）が、特定のイオンチャンネルではEAファーマ社が開発を続けている。

導出準備パイプライン

- ▶ テゴプラザン（日本）：臨床開発に向けて、PMDAのやり取りと、提携先候補企業との協議を実施。
- ▶ グレリン受容体作動薬：外部委託による前臨床試験を実施中。
- ▶ 5-HT4部分作動薬、5-HT2B拮抗薬、モチリン受容体作動薬：導出活動を継続中。

ニュース&トピックス

特定のイオンチャネルを標的とした創薬に関するあすか製薬株式会社との共同研究契約終了

2023年6月9日

ラクオリア創薬株式会社は、特定のイオンチャネルを標的とした創薬に関するあすか製薬株式会社との共同研究契約終了に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、あすか製薬株式会社（非上場、あすか製薬ホールディングス株式会社（東証PRM 4886）傘下、以下、あすか製薬社）と実施してきた、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にかかる契約を終了する、と発表した。

同社とあすか製薬社は、2019年7月から新薬の創出を目指した共同研究を行ってきたが、その成果を用いた発展的な共同研究の実施について協議を重ねた結果、共同研究契約を終了することを決定した。契約終了に伴い、本共同研究の成果については同社に帰属し、今後は単独で新薬の創出を目指した研究開発を進めることになる。

なお、同社によれば、本件による同社の2023年12月期通期連結業績への影響はない。

*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である。さまざまな細胞に発現し、種類によって通過できるイオンが決まっている。神経のシグナル伝達、筋肉の収縮、ホルモンの分泌など、さまざまな生理現象にイオンチャネルが深く関与しているため、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がある。

膜タンパク質を標的とした創薬プロジェクトに関する leadXpro AGとの協業

2023年4月25日

ラクオリア創薬株式会社は、膜タンパク質を標的とした創薬プロジェクトに関する leadXpro AGとの協業に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、創薬難易度の高い膜タンパク質を標的とした創薬研究の加速を目指し、スイスのleadXpro AG（非上場、以下、leadXpro社）と協業を開始した、と発表した。同社は膜タンパク質を標的としたイオンチャネル創薬で技術上の強みと開発化合物の実績があり、leadXpro社との協業により、イオンチャネルを対象とした創薬プロジェクトを加速することを目的としている。

leadXpro社は、膜タンパク質の構造に基づく創薬に特化したバイオテクノロジー企業で、膜タンパク質の構造生物学やリガンド*設計、生物物理学的特性評価における専門知識を有する。クライオ電子顕微鏡^{*2}をはじめとする構造生物学技術を活用し、リガンドがどのようにタンパク質に結合するかを原子レベルで観察することで、薬物候補の論理的な設計が可能となり、創薬研究を加速できると同社はみている。

*リガンドとは、特定の受容体に特異的に結合する物質（アミノ酸、タンパク質、低分子化合物など）のこと。特定の疾患に対してターゲットとなる受容体を特定し、リガンドとの相互作用やリガンドによる薬剤の選択的作用などにより、治療効果を発揮する薬剤の開発が行われる。

^{*2} クライオ電子顕微鏡（Cryogenic電子顕微鏡）とは、液体窒素（-196℃）冷却下でタンパク質などの生体分子に対して電子線を照射し、試料の観察（立体構造解析）を行うための装置。

仏Vetbiolix SASとのペット腸管運動障害治療薬の開発に関する契約締結

2023年4月6日

ラクオリア創薬株式会社は、仏Vetbiolix SASとのペット腸管運動障害治療薬の開発に関する契約締結を発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、同社が創製した5-HT₄作動薬（化合物コード：RQ-00000010、以下、RQ-10）について、フランスのVetbiolix SAS（非上場、以下、Vetbiolix社）との間で、ペット用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を同日締結した、と発表した。この契約に基づき、同社はVetbiolix社に対してRQ-10を含有する動物用医薬品の開発、製造および販売に関する、独占的かつ全世界を対象としたサブライセンス可能なライセンスに関する独占的オプションを付与する。この独占的オプションは最長24カ月存続し、その間Vetbiolix社はRQ-10を用いて犬・猫の腸管運動障害を対象としたペット用医薬品としてのコンセプト立証に関する研究活動を行う。

RQ-10は、同社が創製した高活性かつ高選択で経口投与可能な低分子作動薬で、犬を用いた非臨床試験において、1μg/kgという低用量で胃や大腸の運動を促進した。また、さまざまな非臨床試験および第1相臨床試験を実施し、良好な動物動態および安全性が確認された。

Vetbiolix社により独占的オプションが行使された時点で、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受け、また開発の進捗に応じたマイルストーンおよび販売ロイヤリティなどを受け取る権利を取得する。同社によれば、本件による2023年12月期通期業績への影響は軽微であり、2023年2月14日に公表された業績予想に変更はない。

取締役に対する譲渡制限付株式報酬としての新株式発行

2023年3月24日

ラクオリア創薬株式会社は、取締役に対する譲渡制限付株式報酬としての新株式発行に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は同日開催の取締役会において、譲渡制限付株式報酬として以下の通り新株式発行を行うことを決議した、と発表した。同社取締役を対象とした譲渡制限付株式報酬制度については、2022年3月の株主総会で承認済である。

払込期日	2023年4月24日
発行する株式の種類及び株式数	同社普通株式 14,100株
発行価額	1株につき 821 円 (2023年3月23日終値)
発行価額の総額	11,576,100円
割当予定先	監査等委員である取締役及び社外取締役を除く同社取締役3名

本制度は、同社の企業価値の持続的な向上を図るインセンティブを付与するとともに、株主との価値共有を進めることを目的としている。同社が対象取締役に対して年額15,000千円以内の金銭報酬債権を支給し、各対象取締役がそのすべてを現物出資の方法で給付することにより、譲渡制限付き株式の割り当てを受ける、というもの。株主価値の共有を中長期にわたり実現するため、譲渡制限期間は交付日から同社取締役その他取締役会で定める地位を喪失するまでとする。

Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬(アミド誘導体)の中国における特許査定

2023年3月2日

ラクオリア創薬株式会社は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬(アミド誘導体)の中国における特許査定に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、中国で審査中であった、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬（アミド誘導体）の物質特許について、特許査定の連絡を受けた、と発表した。特許査定とは各国特許庁の審査により、特許権を与える価値がある出願発

明であると判断された場合に示される評価で、特許料の納付により登録特許となり、該当国における特許権が発生する。当ナトリウム遮断薬については日本、欧州、米国に続き、中国においても同社の知的財産権が認められた。

同社が創出した当ナトリウムチャンネル遮断薬は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャンネルに特異的に作用し、複数の疼痛モデル動物において高い有効性を示すことが確認されている。一方で、心臓で重要な働きをするNav1.5ナトリウムチャンネルに対して良好的な選択性を示すことから、心血管系に対する副作用を抑制する可能性のある画期的新薬となると同社は期待する。

同社によれば、本特許査定による2023年12月期の業績への影響はないものの、特許査定を受けたアミド誘導体は、今後の開発などを通じて中長期的に同社の企業価値向上に寄与すると同社は考える。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのメキシコにおける販売承認

2023年2月14日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのメキシコにおける販売承認に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、メキシコにおけるサブライセンス先のLaboratorios Carnot（非上場、以下、Carnot社）がメキシコの規制当局より販売承認を取得した、と発表した。HKイノエン社はCarnot社と2019年にサブライセンス契約を契約し、Carnot社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めていた。今回承認を取得した適応疾患は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法（消化性潰瘍または慢性萎縮性胃炎患者を対象とする抗生物質併用療法）の4つ。テゴプラザンの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポールに次ぐ7カ国目である。

Carnot社は、HKイノエン社との契約によって、メキシコを含む中南米17カ国におけるサブライセンスを得ており、同社によれば、その地域における消化性潰瘍薬の市場規模は約210,000百万円である。メキシコでの承認取得を皮切りに、ほかの中南米諸国での製品上市に向けた動きが進展することを同社は期待している。

同社はHKイノエン社との間で、テゴプラザンの開発・販売および製造の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社がサブライセンス先から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本件に伴い同社はHKイノエン社から一時金を取得し、2023年12月期第1四半期の事業収益として計上する。

湘南ヘルスイノベーションパークに新たな研究拠点を設置、米国シロス社がタミバロテンの骨髄異形成症候群（MDS）に対する米国FDAからファストトラック指定を受けたことを発表

2023年1月27日

ラクオリア創薬株式会社は、湘南ヘルスイノベーションパークに新たな研究拠点を設置した、と発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は現在、主に名古屋大学東山キャンパス内のラクオリア創薬産学共同研究センターで、新薬の研究活動を行っている。この度、新たに湘南ヘルスイノベーションパーク（神奈川県藤沢市、以下、湘南アイパーク）に研究拠点を設置し、研究活動を開始する、と発表した。湘南アイパークは2018年4月に設立された、日本初の製薬企業発サイエンスパークであり、製薬企業、次世代医療、AI、ベンチャーキャピタル、行政など、2023年1月現在約150社、2,000人以上の企業・団体がエコシステムを形成している。

同社は今回の研究拠点新設を通じ、湘南アイパークの入居者をはじめとする様々なパートナーとのネットワーク構築を図る。新規モダリティ、標的分子探索、AIの創薬応用などに関する最先端の治験や技術を保有する企業との協業機会を獲得し、創薬バリューチェーンとポートフォリオをさらに充実させたいとしている。なお、同社によれば、本件による2023年12月期の業績への影響は軽微である。

ラクオリア創薬株式会社は、米国シロス社がタミバロテンの骨髄異形成症候群（MDS）に対する米国FDAからファストトラック指定を受けた、と発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、連結子会社のテムリック株式会社（以下、テムリック社）から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体 α 作動薬（以下、タミバロテン）について、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration、以下、FDA）より高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象としたファストトラック指定を受けた、と発表した。

ファストトラックとは、重篤な疾患の治療を目的とし、アンメットメディカルニーズに応える可能性が非臨床または臨床データから示された医薬品候補物質の開発を促進し、審査を迅速化するためにFDAが策定した制度である。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換を頻繁に行うことができる。また、臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速承認の対象となる可能性がある。

タミバロテンは、レチノイン酸受容体 α サブタイプに選択的な作動薬であり、強い分化誘導活性を示すことから、他の抗腫瘍剤との併用による相乗効果が期待される化合物である。現在、シロス社はRARA陽性*1の未治療HR-MDS*2患者を対象として、タミバロテン/アザシチジンの2剤併用療法の第III相臨床試験を実施しており、12か国における75以上の臨床試験施設で患者登録を行っている。190名の患者登録を2023年12月期第4四半期に完了し、2024年12月期第3四半期に薬事承認用のデータが得られる見込みである。

*1RARA陽性とは、レチノイン酸受容体の α サブタイプ（RAR α ）をコードする遺伝子である「RARA」の過剰発現が認められる状態。

*2MDSとは、骨髄中の造血幹細胞に異常が起き、正常な血液細胞が造られなくなる病気。

テムリック社は、2015年9月に北米および欧州におけるタミバロテンのがん治療薬の開発販売権をシロス社に許諾するライセンス契約を締結し、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売後のロイヤルティを受け取る権利を有している。本件に伴いテムリック社が受け取る一時金はないため、2023年12月期連結業績予想に変更はないが、今回のファストトラック指定はタミバロテンの臨床開発ならびに薬事承認の円滑な進行に大きく寄与する、と同社は考える。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのブラジルにおけるサブライセン

2023年1月26日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのブラジルにおけるサブライセンスに関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB[®]」、以下、テゴプラザン）について、HKイノエン社がブラジルを対象地域としたライセンス契約を締結した、と発表した。サブライセンス先は、1972年に設立されたブラジルの大手製薬企業Eurofarma Laboratories S.A.（EUFA-BR、以下、ユーロファルマ社）で、2021年におけるユーロファルマ社の事業収益は8,300百万ブラジルリアル（約199十億円、1BR24円換算）。本契約に基づき、HKイノエン社はユーロファルマ社にテゴプラザンの製造に関する技術を移転し、ユーロファルマ社はこれを用いてブラジル国内でテゴプラザン製剤の製造および販売を行う。

同社によれば、ブラジルにおける消化性潰瘍薬の市場規模は約80,000百万円で、中南米で最大かつ世界でも第6位の規模である。ユーロファルマ社グループでは3,100人以上の従業員が毎月およそ630千件の医療関係者対応を行う、業界最大の営業・マーケティング体制を構築していることから、ブラジル市場におけるテゴプラザンの速やかな浸透を同社は期待している。

同社はHKイノエン社との間で、テゴプラザンの開発・販売および製造の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社がサブライセンス先から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本件に伴い同社はHKイノエン社から一時金を取得し、2022年12月期第4四半期の事業収益として計上するが、2022年12月期業績への影響は軽微である。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanの中国における保険収載

2023年1月19日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanの中国における保険収載に関して発表した。

ラクオリア創薬 4579



Research Coverage Report by Shared Research Inc. | <https://sharedresearch.jp> | 登録無料

56

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、中国販売名（登録商標）「泰欣贊®（タイシンザン）」、以下、テゴプラザン）について、中国におけるサブライセンス先のShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）が、中国の公的医療保険である国家基本医療保険の償還対象となることが決定された、と発表した。

中国におけるテゴプラザンの承認申請はLuoxin社により行われ、2022年4月に中国当局に承認されてからわずか15日で、Luoxin社はテゴプラザンの販売を開始した。2023年1月18日に中国の規制当局である国家医療保障局から出された「国家基本医療保険、労働災害保険、出産保険医薬品カタログ（2022年）」（以下、NRDL）の発行に関する通知により、テゴプラザンは発売から1年未満という短期間でNRDLに掲載された。NRDLの掲載前には掲載前よりも薬価が引き下げられるが（今回の掲載品は平均60.1%引き下げ）、全額自己負担から医療保険の償還対象となることでテゴプラザンへのアクセスが向上し、結果的に売上が増加すると同社は見込んでいる。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、開発段階の進捗に応じた開発マイルストーンと販売後の売上に応じたロイヤルティなどでHKイノエン社が得る収益の一定割合を受け取る権利を有する。本件により同社が受け取る一時金はないものの、2022年12月期の事業収益予想には、半年程度前倒して販売開始となったテゴプラザンの中国におけるロイヤルティ収入を一部含んでいる。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのシンガポールにおける販売承認

2023年1月13日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのシンガポールにおける販売承認に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、シンガポールにおけるサブライセンス先のUnited Italian Trading Corporation (Pte) Ltd.（非上場、以下、UITC社）がシンガポール保険科学庁（Health Sciences Authority）より販売承認を取得した、と発表した。HKイノエン社はUITC社と2020年にサブライセンス契約を契約し、UITC社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めていた。今回承認を取得した適応疾患は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法のみ。テゴプラザンの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシアに次ぐ6か国目である。

同社はHKイノエン社との間で、テゴプラザンの開発・販売および製造の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社がサブライセンス先から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。なお、本件により同社が受け取る一時金はない。

株式会社 Veritas In Silicoとの共同研究契約締結

2022年12月27日

ラクオリア創薬株式会社は、株式会社 Veritas In Silicoとの共同研究契約締結に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、株式会社Veritas In Silico（非上場、以下、Veritas In Silico社）との共同研究により、メッセンジャーRNA（以下、mRNA）を標的とした画期的な低分子医薬品の創出に取り組むことを発表した。Veritas In Silico社は、mRNAを標的とする創薬に特化した、独自のプラットフォーム技術を有している。Veritas In Silico社は従来のタンパク質標的に代わる新たな創薬領域を切り拓くため、mRNA上の標的構造を同定し、その標的構造に対して低分子医薬品の創出を可能とする独自のmRNA標的創薬プラットフォーム「ibVIS®」を構築した。

ibVIS®は、RNA構造解析、RNA結合低分子化合物の定量的スクリーニング、標的RNA構造と低分子化合物の結合を測定する実験技術、RNA-低分子化合物複合体の3次元構造解析と分子軌道計算に基づく Structure-Based Drug Design* など、mRNA標的創薬に必要な一連の最先端プラットフォーム技術を有している。

(Structure-Based Drug Design (SBDD) とは、受容体タンパク質側の構造情報に基づいて設計する手法。)

本共同研究では、同社が定めるがん疾患に関連する複数の遺伝子を標的として、対応するmRNA上の標的構造の同定から、ハイスループットスクリーニングによるヒット化合物の取得、ヒット化合物の合成展開によるリード化合物の取得、リード化合物最適化による開発候補化合物の取得に至る、複数年の創薬研究を行う。同社は本創薬研究で得られる開発化合物について、全世界における開発・製造・流通・販売に係る独占的権利を取得する。その対価として、同社はVeritas In Silico社に対し、契約一時金および研究協力金を支払う。さらに、開発候補化合物の開発および上市に至った場合、同社はVeritas In Silico社に対し、その進捗に応じたマイルストーンおよびロイヤルティ等を支払う可能性がある。

なお、同社によれば、本件による2022年12月期業績への影響は軽微であり、通期連結業績予想に変更はない。中長期的には、同社の研究開発ポートフォリオの強化および開発パイプラインの拡充につながると同社は考えている。

第三者割当による新株式及び第16回新株予約権の発行

2022年12月20日

ラクオリア創薬株式会社は、第三者割当による新株式及び第16回新株予約権の発行に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、2024年12月までの中期経営計画に示した探索研究投資および前臨床・臨床開発試験などに、合計2,393百万円（それぞれ1,172百万円および1,221百万円、人件費含まず）の研究開発投資を必要としていた。この計画に加えて、研究開発の質・量をさらに高めて進展を加速するには、新規モダリティの探索活動やAI創薬関連投資のほか、ラボの設備強化などに、今後5年間で約2,800百万円の追加投資が必要と見込んでいる。同社の手元資金など（約4,000百万円）や蓋然性の高い収入では不足するため、開発投資に充当する新たな資金確保が必要と判断し、第三者割当による新株式および新株予約権による資金調達を行うこととした。

今回の調達により、2024年12月までに必要となる資金は自己資金と合わせて新株式発行による金額が充当され、2027年12月までに必要となる資金は新株予約権の行使により獲得した資金を充当する予定。概要と資金使途は以下の通り。

株式	
払込期日	2023年1月5日
発行新株式数	普通株式625,000株
発行価額	1株当たり1,258円
資金調達額	786,250千円
割当予定先	CVI Investments, Inc.
新株予約権	
割当日	2023年1月5日
新株予約権の総数	12,500個
発行価額	総額 19,362,500円（本株式予約権1個当たり1,549円）
潜在株式数	1,250千株（本株式予約権1個につき100株）
資金調達額	1,945百万円*
行使価額	1,556円（修正は行われない）
行使期間	2023年1月6日～2028年1月5日
割当予定先	CVI Investments, Inc.

*本新株予約権の行使期間内に行使が行われない場合および同社が取得した新株予約権を消却した場合には、調達資金額は減少する。

新株発行による資金の使途		
既存プログラムおよび新規化合物の臨床開発	232百万円	2023年1月～2024年12月
新規モダリティの探索活動およびAI創薬関連投資	365百万円	2023年1月～2024年12月
ラボの設備強化	181百万円	2023年1月～2024年12月
	合計778百万円	
第16回新株予約権発行による資金の使途		
既存プログラムおよび新規化合物の臨床開発	815百万円	2025年1月～2027年12月
新規モダリティの探索活動およびAI創薬関連投資	623百万円	2025年1月～2027年12月
ラボの設備強化	507百万円	2025年1月～2027年12月
	合計1,945百万円	

なお、同社によれば、本資金調達による2022年12月期の業績に与える影響は軽微であり、業績予想に変更はない。詳細はリリースを参照。

株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所との共同研究契約締結、米国シロス社がタミバロテンを用いて実施中の急性骨髄性白血病を対象とした臨床試験の進捗および今後の計画

2022年12月12日

ラクオリア創薬株式会社は、株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所との共同研究契約締結に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所（東証GRT 4576、以下、DWTI社）と、両社が保有する技術、リソースならびに医薬品研究開発のノウハウを活用し、特定の視神経疾患治療薬の創製に向けた共同研究（探索研究）を実施する。

本共同研究において同社は、自社のイオンチャネル創薬技術を活かして特定のイオンチャネルを標的とした化合物群（以下、本化合物群）の合成を担当し、DWTI社は自社の眼科領域での評価技術を活かして、薬効薬理試験などにより本化合物群の眼疾患治療薬の可能性を検証する。本共同研究により得られた技術的成果および知的財産権は両社の共有とし、本共同研究終了後も次段階の協業に向けて協議する。

なお、同社によれば本件による2022年12月期業績への影響は軽微であり、業績予想に変更はない。中長期的には、同社の研究開発ポートフォリオの強化及び開発パイプラインの拡充につながると同社は考える。

ラクオリア創薬株式会社は、米国シロス社がタミバロテンを用いて実施中の、急性骨髄性白血病を対象とした臨床試験の進捗および今後の計画に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

タミバロテンは、レチノイン酸受容体 α サブタイプに選択的な作動薬であり、強い分化誘導活性を示すことから、他の抗腫瘍剤との併用による相乗効果が期待される化合物である。連結子会社のテムリック株式会社（以下、テムリック社）から米国Syros Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ, SYRS、以下、シロス社)に導出したレチノイン酸受容体 α 作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。

シロス社は、RAR α 陽性の未治療unfit AML（高齢者など、標準化学療法に適さないAML患者層）を対象とした、タミバロテン・ベネトクラクス・アザシチジンの3剤併用療法の第II相臨床試験を2021年9月から実施している。今般シロス社は、第II相臨床試験の安全性導入パートのデータを、第64回米国血液学会（ASH）年次総会において報告した。シロス社によれば、タミバロテンを既存の標準療法と併用することで、RAR α 遺伝子過剰発現を有する約30%のAML患者の予後を改善できることが示され、複合完全奏効率*は83%であった。また、シロス社はこのデータに基づき、無作為化試験*²パートに進む計画を発表した。無作為化試験パートは2023年12月期第1四半期に開始予定で、2023年または2024年にデータが得られる見込みである。

テムリック社は、2015年9月に北米および欧州におけるタミバロテンのがん治療薬の開発販売権をシロス社に許諾するライセンス契約を締結し、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売後のロイヤルティを受け取る権利を有している。本件に伴いテムリック社が受け取る一時金はないため、2022年12月期連結業績予想に変更はないが、AMLを対象とした臨床試験の進展はタミバロテンの中長期的な価値向上に資するものと同社は考える。

*複合完全奏効率は、完全奏効（CR：Complete Response）率および血球数回復が不完全な完全奏効（CRi：CR with incomplete hematologic recovery）率の合計。

*²無作為化試験とは、対象者を2つ以上の群に特定の意図に依らない無作為な方法で分け、治療法などの効果を検証する試験。無作為化比較試験、ランダム化試験、ランダム化比較試験とも呼ばれる。

P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始および旭化成ファーマからの一時金受領、事業計画及び成長可能性に関する事項の修正、

ラクオリア創薬 4579



Research Coverage Report by Shared Research Inc. | <https://sharedresearch.jp> | 登録無料

59

2022年12月期 通期連結業績予想の修正

2022年11月17日

ラクオリア創薬株式会社は、P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始および旭化成ファーマからの一時金受領に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、2018年3月にライセンス契約を締結し、旭化成ファーマ株式会社（非上場、旭化成株式会社（東証PRM 3407）傘下、以下、旭化成ファーマ社）にP2X7受容体拮抗薬（RQ-00466479）を導出した。今般、旭化成ファーマ社のライセンス先である米国Eli Lilly and Co.（NYSE LLY、以下、リリー社）が慢性疼痛患者を対象とした第II相臨床試験を開始し、マイルストーンを達成した。これに伴い、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドルを受領し、2022年12月期第4四半期の事業収益として計上する。

同社は旭化成ファーマ社とのライセンス契約に基づき、P2X7受容体拮抗薬の開発段階に応じたマイルストーンおよび上市後は販売額に応じたロイヤルティとして旭化成ファーマ社が得た収益に対して、一定料率のロイヤルティを受領する権利を有している。

ラクオリア創薬株式会社は、事業計画及び成長可能性に関する事項の修正に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、昨今の事業環境の変化および事業の進捗に基づき、2024年12月期までの事業計画を下記の通り修正した。修正の背景は、主として2022年12月期および2023年12月期におけるマイルストーン収入の増減と、為替相場の変動を勘案して計画レートを1米ドル125円から135円に修正した影響額を織り込んだことによる。

	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期	23年12月期	24年12月期	3年間
(百万円)	連結	修正後会予	見直し前計画	見直し前計画	見直し後計画	見直し後計画	CAGR
事業収益	2,776	3,075	3,069	3,645	2,957	3,752	
前年比	150.7%	10.8%	-0.2%	18.8%	-3.6%	26.9%	10.6%
事業費用	2,068	2,251	2,675	2,478	2,691	2,504	
前年比	29.8%	8.8%	18.8%	-7.4%	0.6%	-6.9%	6.6%
事業費比率	74.5%	73.2%	87.2%	68.0%	91.0%	66.7%	
営業利益	708	824	393	1,167	266	1,248	
前年比	-	16.4%	-52.3%	196.9%	-32.3%	369.2%	20.8%
営業利益率	25.5%	26.8%	12.8%	32.0%	9.0%	33.3%	
経常利益	864	909	403	1,174	256	1,238	
前年比	-	5.2%	-55.7%	191.3%	-36.5%	383.6%	12.7%
経常利益率	31.1%	29.6%	13.1%	32.2%	8.7%	33.0%	
当期純利益	756	724	327	970	204	990	
前年比	-	-4.2%	-54.8%	196.6%	-37.6%	385.3%	9.4%
当期純利益率	27.2%	23.5%	10.7%	26.6%	6.9%	26.4%	

出所：会社資料よりSR社作成

ラクオリア創薬株式会社は、2022年12月期 通期連結業績予想の修正を発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

2022年12月期通期連結業績予想の修正

- 売上高：3,075百万円（前期比10.8%増、前回予想2,605百万円）
- 事業費用：2,251百万円（同8.8%増、同2,184百万円）
- 営業利益：824百万円（同16.4%増、同420百万円）
- 経常利益：909百万円（同5.2%増、同420百万円）
- 親会社株主に帰属する当期純利益：724百万円（同4.2%減、同342百万円）
- 1株当たり当期純利益：34.55円（同16.34円）

修正の理由

期初予想には、P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入について、達成割合を勘案して半額の250百万円を想定していた。今回の修正は、P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入4百万米ドル（500百万円）の全額と、円安による影響額147百万円を織り込んだことによる。想定為替レートは、1米ドル125.00円から135.00円に修正した。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanの米国における第III相臨床試験開始

2022年10月20日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanの米国における第III相臨床試験開始に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、サブライセンス先の米国Brintree Laboratories, Inc.（非上場、以下、Brintree社）が米国において、びらん性胃食道逆流症患者および非びらん性胃食道逆流症患者を対象とした第III相臨床試験を開始した、と発表した。

米国において、HKイノエン社は2021年12月にBrintree社とサブライセンス契約を締結し、以後Brintree社が後期臨床試験の実施に向けた取り組みを進めてきた。Brintree社は第III相臨床試験の開始に先立ち、米国FDA（U.S. Food and Drug Administration）と協議し、第II相臨床試験を経ずに第III相臨床試験を行うことについて同意を得た。FDAに認可された臨床試験計画に従って患者の組入れが行われ、この度、最初の被験者への投与が行われた。

第III相臨床試験では、対照薬にPPI（Proton Pump Inhibitors：プロトンポンプ阻害剤）を用いて、テゴプラザンの有効性と安全性が評価される。第II相臨床試験を省略して第III相臨床試験が開始されたことは、米国におけるテゴプラザンの臨床開発期間の短縮および発売時期の前倒しにつながる、重要な進捗である、と同社は考えている。

同社によれば、米国における消化性潰瘍薬の市場は世界最大規模であり、2021年における市場規模は約400,000百万円であった。現在、米国地域ではP-CAB（Potassium-Competitive Acid Blocker：カリウムイオン競合型アシッドブロッカー）が販売されておらず、同地域での胃食道逆流症の治療には主にPPIが用いられている。P-CABの競合品としては、2022年にVOQUEZNA™（一般名：vonoprazan）がヘリコバクター・ピロリ感染症の治療用途で承認を取得している。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、米国での開発及び販売に関して、開発段階の進展に応じたマイルストーンおよび一定料率の販売ロイヤルティを受け取る権利を保有している。第III相臨床試験の開始に伴って同社が受け取る一時金はないものの、テゴプラザンの米国での発売時期の前倒しを実現できれば、同社の中長期の業績拡大に寄与する、と同社はみている。なお、本件による2022年12月期の連結業績予想への影響はない。

胃食道逆流症治療薬tegoprazanのインドネシアにおける販売承認

2022年10月12日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanのインドネシアにおける販売承認に関して発表した。

(リリースへのリンクは[こちら](#))

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、サブライセンス先のPT Kalbe Pharma Tbk（インドネシア、KLBF、以下、Kable社）がインドネシア規制当局（BPOM、Badan Pengawas Obat dan Makanan）から、非びらん性胃食道逆流症を適応疾患とする販売承認を取得した、と発表した。今回のインドネシアでの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピンに次ぐ5か国目となる。

同社はHKイノエン社との間で、テゴプラザンの開発・販売および製造の再実施許諾権（サブライセンス権）付きの独占的ライセンス契約を締結している。韓国ではK-CABとして2019年からHKイノエン社により販売され、2021年の韓国国内売上（院外処方実績）は1,096億ウォン（約10,960百万円、1ウォン0.1円換算）で、韓国における消化性潰瘍薬市場シェア1位となっている。

インドネシアにおいて、HKイノエン社は2019年にKable社とサブライセンス契約を締結し、以後Kalbe社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めた。HKイノエン社によれば、2021年におけるインドネシアの消化性潰瘍薬の市場規模は約170百万米ドル（約21,250百万円、1ドル125円換算）で、世界19位の市場である。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がKable社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。本承認に伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領し、2022年12月期第4四半期の事業収益として計上する。なお、現時点では2022年12月期通期連結業績予想に変更はない。

その他の情報

沿革

2008年2月	医薬品の研究開発を目的として、愛知県知多郡に本社設立
2008年7月	ファイザー株式会社中央研究所の閉鎖に伴い、従業員の一部が移籍するとともに、研究機器などの設備を有償で譲り受け、事業を開始
2010年9月	CJ Cheil Jedang Corporation（韓国、現・HK inno.N Corporation）とカリウムイオン競合型アシッドプロロッカーの韓国、中国（香港を含む）、台湾地域における商用化に関する導出契約を締結
2010年12月	Aratana Therapeutics, Inc.（米国、現・Elanco Animal Health, Inc.）とEP4拮抗薬およびグレリン受容体作動薬の動物用医薬品としての全世界における商用化に関する導出契約を締結
2011年7月	大阪証券取引所JASDAQ（グロース、現・東京証券取引所グロース）に株式を上場
2014年2月	国立大学法人名古屋大学（現・国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学）と産学共同研究部門設置に関する契約を締結
2014年9月	創業研究部門生物研究部を名古屋大学内に移転
2014年11月	CJ HealthCare Corporation（現・HKイノエン社）とカリウムイオン競合型アシッドプロロッカーの東南アジア地域における商用化に関する導出契約を締結
2015年8月	創業研究部門科学研究部を名古屋大学内に移転
2017年1月	Aratana Therapeutics, Inc.（現・エランコ社）がEP4拮抗薬（GALLIPLANT [®] 、動物薬）を米国にて販売開始
2017年12月	マルホ株式会社と選択的ナトリウムチャネル遮断薬に関する導出契約を締結
2018年3月	旭化成ファーマ株式会社と神経障害性疼痛治療薬P2X7受容体拮抗薬に関する導出契約を締結
2019年3月	CJ Cheil Jedang Corporation（現・HKイノエン社）がカリウムイオン競合型アシッドプロロッカー（テゴプラザン、K-CAB [®] ）を韓国にて販売開始
2019年3月	Aratana Therapeutics, Inc.（現・エランコ社）がグレリン受容体作動薬（ELURA [®] 、動物薬）を米国にて販売開始
2019年11月	CJ Cheil Jedang Corporation（現・HKイノエン社）とグローバルパートナーシップ拡大に関する契約を締結
2021年9月	Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（香港）とTRPM8遮断薬に関する導出契約を締結
2021年12月	久光製薬株式会社とナトリウムチャネル遮断薬に関する導出契約を締結
2022年4月	東京証券取引所の新市場区分「グロース市場」に上場

出所：会社資料よりSR社作成

湘南アイパークに研究開発拠点を新設

同社は、主に名古屋大学東山キャンパス内のラクオリア創薬産学共同研究センターで、新薬の研究活動を行っている。2023年1月、新たに湘南ヘルスイノベーションパーク（神奈川県藤沢市、以下、湘南アイパーク）に研究拠点を設置し、研究活動を開始した。湘南アイパークは2018年4月に設立された、日本初の製薬企業発サイエンスパークであり、製薬企業、次世代医療、AI、ベンチャーキャピタル、行政など、約150社、2,000人以上の企業・団体がエコシステムを形成している（2023年1月現在）。湘南アイパーク内では様々なネットワーキングイベントがあり、新規モダリティ、標的分子探索、AIの創薬応用などに関する最先端の治験や技術を保有する企業との協業機会を獲得して、創薬バリューチェーンとポートフォリオをさらに充実させたいとしている。

コーポレートガバナンスおよびトップマネジメント

組織形態・資本構成	
組織形態	監査等委員会設置会社
支配株主・親会社の有無	無
取締役・監査等委員関係	
定款上の取締役員数	12名
取締役人数	7名
定款上の取締役任期	1年
取締役会議長	社長
社外取締役人数	4名
社外取締役のうち独立役員に指定されている人数	3名
定款上の監査等委員の人数	3名
監査等委員の人数	3名
監査等委員のうち社外取締役の人数	3名
監査等委員会の委員長（議長）	社外取締役
その他	
議決権電子行使プラットフォームへの参加	有
招集通知（要約）の英文での提供	有
取締役へのインセンティブ付与に関する施策の実施状況	業績連動報酬制度の導入
ストックオプションの付与対象者	従業員
取締役報酬の開示状況	無
報酬の額またはその算定方法の決定方針の有無	有
買収防衛策の導入の有無	無

出所：会社資料よりSR社作成

トップマネジメント

代表取締役 武内博文（1971年12月21日生まれ）

1994年4月	協和株式会社 入社
2004年2月	株式会社スカイライト・バイオテック 入社 営業統括マネージャー
2005年9月	株式会社スカイライト・バイオテック 事業推進兼財務担当取締役
2006年7月	株式会社スカイライト・バイオテック 管理本部担当取締役CFO
2009年5月	住商リアルティ・マネジメント株式会社 入社 管理部マネージャー
2013年1月	株式会社サイフューズ 入社 取締役経営管理担当
2014年1月	ラクオリア創薬株式会社 入社 経理部長代理
2014年4月	ラクオリア創薬株式会社 経理部長
2014年10月	ラクオリア創薬株式会社 財務・経営企画部門 財務経理部長
2018年4月	ユビエンス株式会社 代表取締役社長
2021年3月	ラクオリア創薬株式会社 代表取締役（現任）
2021年6月	ユビエンス株式会社 取締役（現任）

コーポレートガバナンス

同社は監査等委員会設置会社であり、取締役会、監査等委員会および監査室を設置している。取締役会は7名の取締役（うち社外取締役4名）で構成されており、経営監視機能を強化するため、社外取締役として製薬業界および企業経営に精通した人材を登用している。また、経営と執行の分離および執行機能の強化・活性化を図るため、執行役員制度を導入している。2023年3月には、取締役の指名・報酬などに関する手続きの公正性・透明性・客観性を強化し、コーポレートガバナンスの充実を図ることを目的として、指名・報酬委員会を設置した。

配当方針

同社は株主への利益還元は重要な経営課題であると認識しているものの、設立以来先行投資が続き、当期純損失を計上していることから、配当を行っていない。2021年12月期において初めて営業黒字化を達成しており、今後の事業収支において継続的に黒字化を維持できた場合には、財務基盤の強化に応じて実施を検討する、としている。

大株主

大株主の状況	所有株式数 (千株)	所有株式数の 割合
柿沼 佑一	2,385	11.37%
株式会社SBI証券	830	3.95%
ファイザー株式会社	743	3.54%
MSIP CLIENT SECURITIES (常任代理人モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社)	495	2.36%
MORGAN STANLEY & CO.LLC (常任代理人モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社)	312	1.48%
東京証券株式会社	270	1.29%
株式会社アドバンス・メディア	224	1.07%
JPモルガン証券株式会社	207	0.99%
auカブコム証券株式会社	202	0.96%
BNYM SAINV FOR BNYM FOR BNY GCM CLIENT ACCOUNTS LSCB RD (常任代理人株式会社三菱UFJ銀行)	189	0.90%
計	5,855	27.91%

出所：会社資料よりSR社作成（2022年12月31日現在）

従業員数

	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
連結従業員（人）	74	72			60	63	68	70	67	65
単体従業員（人）	70	70	64	50	55	58	62	64	62	62
平均年齢（歳）	43	43.6	44.1	44.8	45.5	45.5	46.3	47.3	46.5	47.5
平均勤続年数（年）	4.7	5.5	5.9	6.6	7.0	6.9	7.4	8.1	8.7	10.7
平均年間給与（千円）	8,024	7,971	8,124	7,242	7,391	7,408	7,237	7,510	7,369	7,033

出所：会社資料よりSR社作成

2022年12月期における同社単体の従業員62名のうち、約50名が研究開発に携わっており、10数名がライセンスの導入などの事業開発と管理業務を行っている。

企業概要

企業正式名称

ラクオリア創薬株式会社

代表電話番号

052-446-6100

設立年月日

2008年2月19日

IRコンタクト

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

本社所在地

名古屋市中村区名駅南1-21-19 名駅サウスサイドスクエア

上場市場

東証グロース市場

上場年月日

2011年7月20日

決算月

12月

株式会社シェアードリサーチについて

株式会社シェアードリサーチは今までにない画期的な形で日本企業の基本データや分析レポートのプラットフォーム提供を目指しています。さらに、徹底した分析のもとに顧客企業のレポートを掲載し随時更新しています。

連絡先

企業正式名称

株式会社シェアードリサーチ / Shared Research Inc.

TEL

+81 (0)3 5834-8787

住所

東京都千代田区神田猿樂町2丁目6-10

Email

info@sharedresearch.jp

HP

<https://sharedresearch.jp>

ディスクレーム

本レポートは、情報提供のみを目的としております。投資に関する意見や判断を提供するものでも、投資の勧誘や推奨を意図したものではありません。SR Inc.は、本レポートに記載されたデータの信憑性や解釈については、明示された場合と黙示の場合の両方につき、一切の保証を行わないものとします。SR Inc.は本レポートの使用により発生した損害について一切の責任を負いません。本レポートの著作権、ならびに本レポートとその他Shared Researchレポートの派生品の作成および利用についての権利は、SR Inc.に帰属します。本レポートは、個人目的の使用においては複製および修正が許されていますが、配布・転送その他の利用は本レポートの著作権侵害に該当し、固く禁じられています。SR Inc.の役員および従業員は、SR Inc.の調査レポートで対象としている企業の発行する有価証券に関して何らかの取引を行っており、または将来行う可能性があります。そのため、SR Inc.の役員および従業員は、該当企業に対し、本レポートの客観性に影響を与える利害を有する可能性があることにご留意ください。

金融商品取引法に基づく表示：本レポートの対象となる企業への投資または同企業が発行する有価証券への投資についての判断につながる意見が本レポートに含まれている場合、その意見は、同企業からSR Inc.への対価の支払と引き換えに盛り込まれたものであるか、同企業とSR Inc.の間に存在する当該対価の受け取りについての約束に基づいたものです。