



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

決算説明会

2021年12月期（第14期）第3四半期

2021年11月17日 東証ジャスダック グロース：4579

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



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



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

決算説明会

2021年12月期（第14期）第3四半期



1. 今期のビジネスハイライト

2. 第3四半期業績

業績概要・事業収益・研究開発費の状況・連結貸借対照表・キャッシュフロー

3. 今年度の見通し

4. 資金調達の状況

5. トピックス

テゴプラザン・イオンチャネル創薬・TRPM8遮断薬、タミバロテンほか

6. プログラムの状況

導出済みプログラム・導出準備プログラム



事業収益

第3四半期事業収益1,623百万円。今期収益目標達成率72%

- 前年同期比183%増
- 経常利益238百万円、純利益169百万円

上市品

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

- ペット用医薬品は前年同期比11.1%増。販売ロイヤルティ収入152百万円を計上
- テゴプラザン（韓国販売名：K-CAB®）の販売好調（院外処方実績781億ウォン）

研究開発 （導出先・自社）

✓ Xgene社とのライセンス契約を締結（2021年9月22日）

- 新規TRPM8遮断薬に関するライセンス契約の締結により契約一時金を計上

✓ タミバロテンの米国での第II相臨床試験の進捗（2021年9月10日）

- シロス社が未治療 Unfit AMLを適応とするタミバロテン/ベネトクラクス/アザシチジンの3剤併用療法の第II相臨床試験において最初の被験者への投与
- マイルストーン達成に伴う一時金100万米ドルを受領

グレリン受容体作動薬の前臨床開発の進展

- 前臨床試験用原薬製造を完了。第4四半期から前臨床試験を開始

その他

あすか製薬との新たな共同研究契約の締結（2021年11月1日）

- これまでに得られた研究成果に基づく発展的な共同研究の実施

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

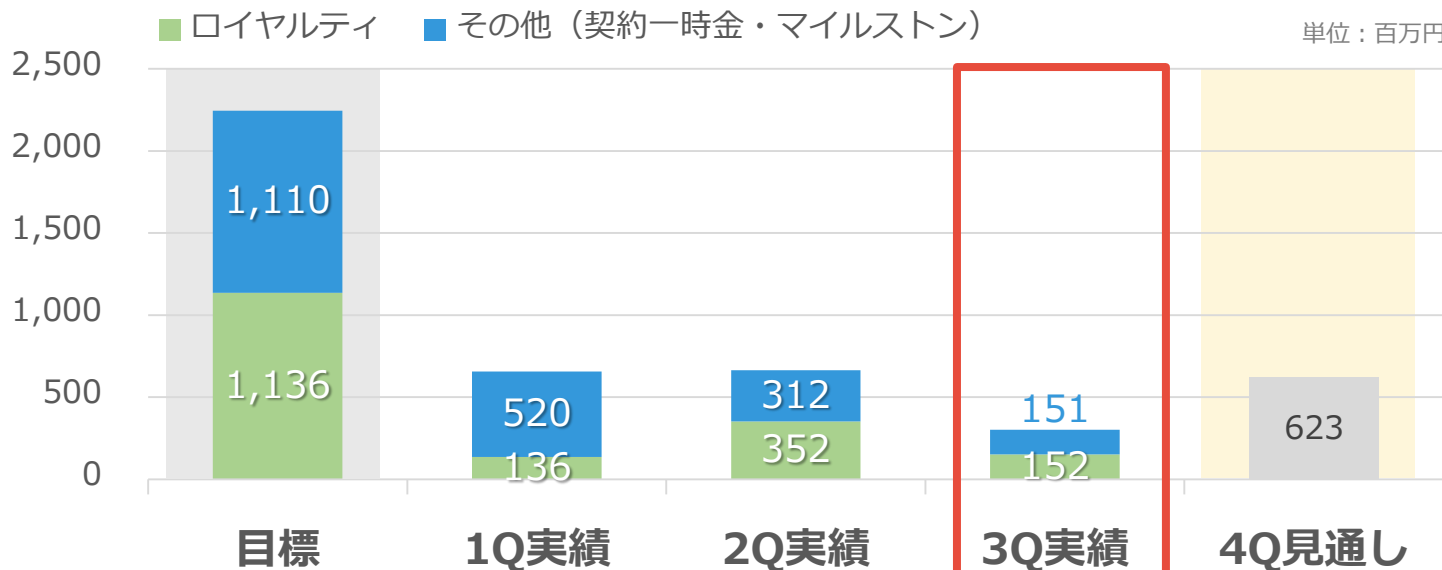


前年度同期

	2021年12月期 第3四半期		2020年12月期 第3四半期
事業収益	1,623 百万円	← 183%増	573 百万円
営業利益	107 百万円		△600 百万円
経常利益	238 百万円		△615 百万円
親会社株主に 帰属する 四半期純利益	169 百万円		△698 百万円



- **ペット用医薬品の販売堅調**：前年同期比 11.1%増。販売ロイヤルティ152百万円を計上
- **ライセンス契約一時金を獲得**：新規TRPM8遮断薬のXgene社とのライセンス契約締結に伴う一時金計上
- **タミバロテン**：シロス社による第Ⅱ相臨床試験の開始に伴うマイルストーン（100万米ドル）を受領



達成率

72%

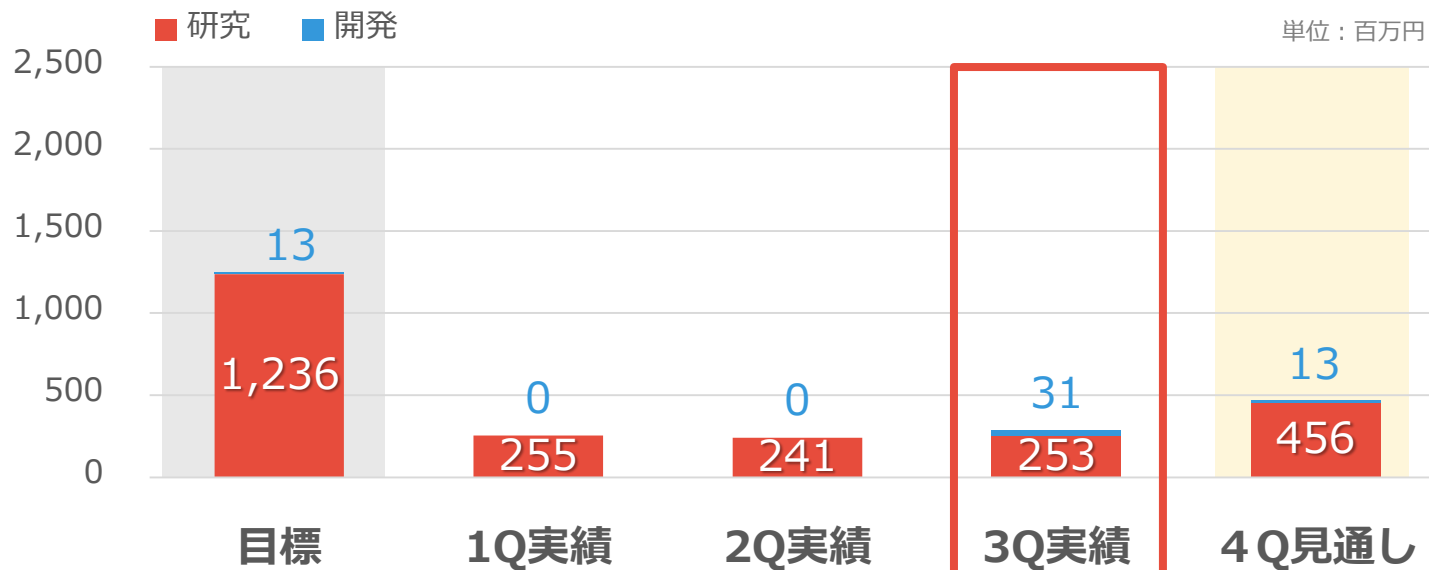
実績	1Q	旭化成ファーマ、マルホ、シロス社からマイルストーンを受領し520百万円を計上 ペット用医薬品（動物薬）の販売ロイヤルティ等で136百万円を計上
	2Q	テゴプラザン（K-CAB®）および動物薬の販売ロイヤルティで352百万円を計上 シロス社およびあすか製薬から受領したマイルストーンを含むその他収入で312百万円を計上
	3Q	動物薬の販売ロイヤルティで152百万円を計上 Xgene社からの契約一時金とシロス社からのマイルストーンを含むその他収入で151百万円を計上
見通し	4Q	K-CAB®ならびに動物薬の販売ロイヤルティ、およびその他収入をあわせて623百万円を見込む

※今後の見通しについては収入区分の別を設けずまとめて表示しています。



研究開発費の状況

- **2021年度第3四半期の累積研究開発費**：780百万円（今年度予算の約63%）
- **グレリン受容体作動薬**：前臨床試験用の原薬製造を完了。第4四半期から前臨床試験を開始



実績	1Q	探索研究を軸に255百万円を計上 タミバロテンの肺癌に対する医師主導治験がAMED採択される
	2Q	探索研究を軸に241百万円を計上 あすか製薬株式会社との共同研究が進展しマイルストーンを達成
	3Q	探索研究を軸に284百万円を計上 グレリン受容体作動薬の前臨床試験用原薬製造を完了
見通し	4Q	探索研究活動に前臨床の費用支払を加えた469百万円を使用する見込み

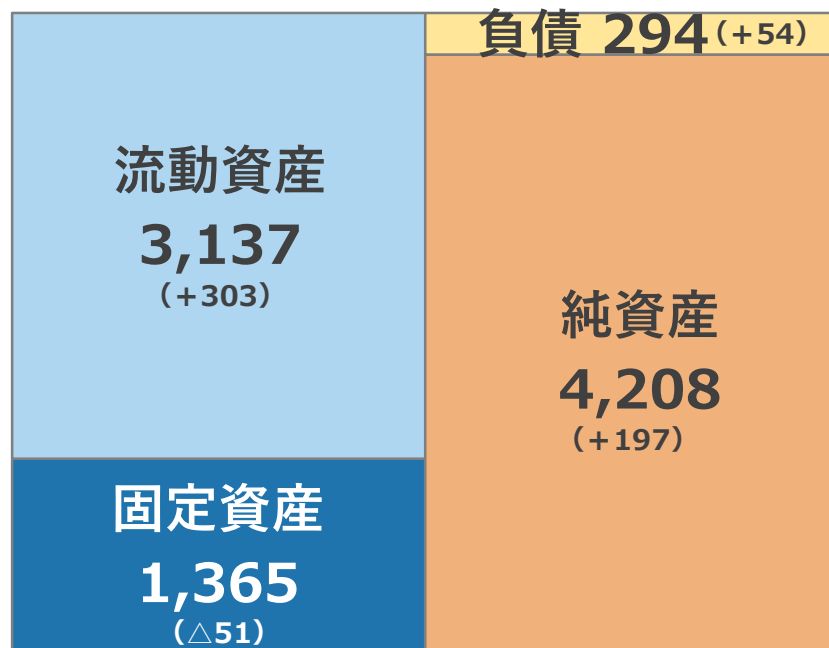
※本資料では開発候補化合物の前臨床試験以降を「開発」としています。



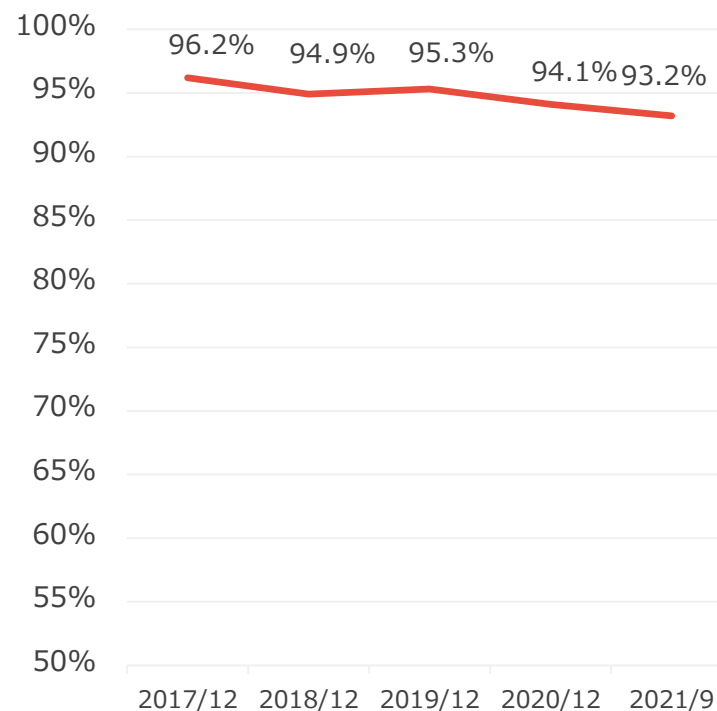
未払金及び未払法人税等の増加により総資産が増加したため、自己資本比率は一時的に低下

連結貸借対照表 (対前期比較)

単位：百万円



自己資本比率



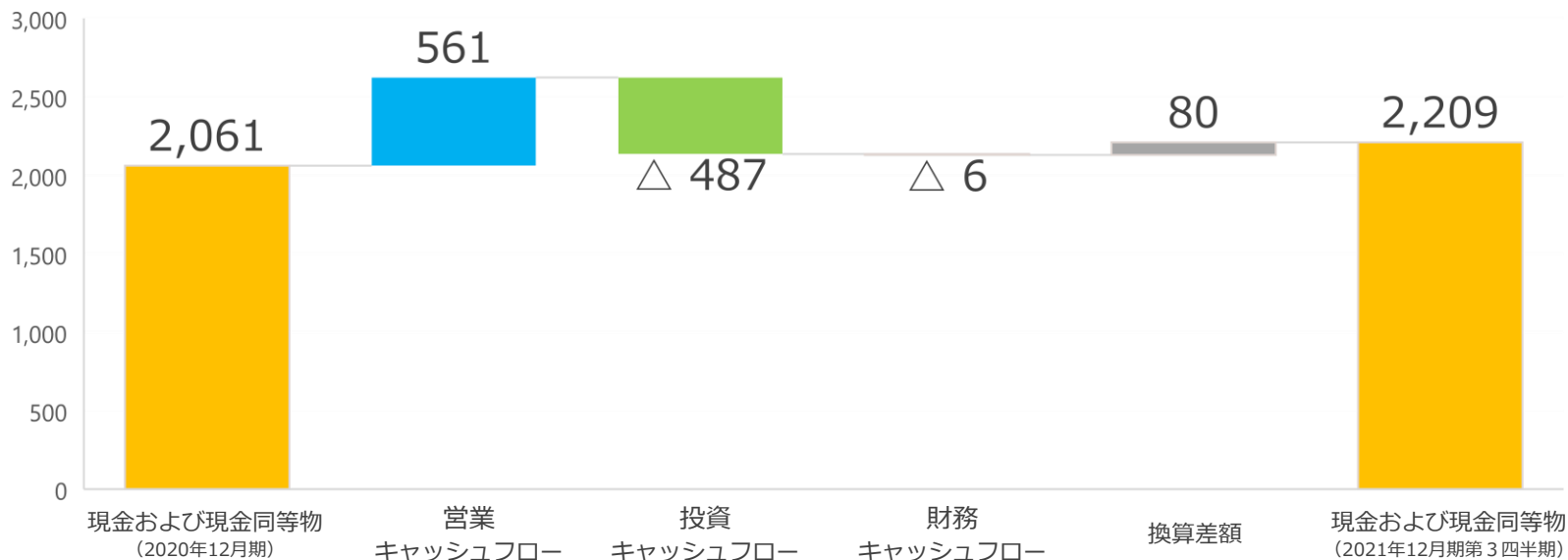


2021年12月期 第3四半期キャッシュフロー

決算説明会

2021年12月期 第3四半期

単位：百万円



営業

キャッシュフロー

主な増加要因：税金等調整前四半期純利益243百万円、売上債権の減少349百万円
 主な減少要因：前払費用の増加84百万円、法人税等の支払額74百万円

投資

キャッシュフロー

主な増加要因：投資有価証券の売却による収入110百万円
 主な減少要因：定期預金の預入支出317百万円、投資有価証券の取得による支出200百万円

財務

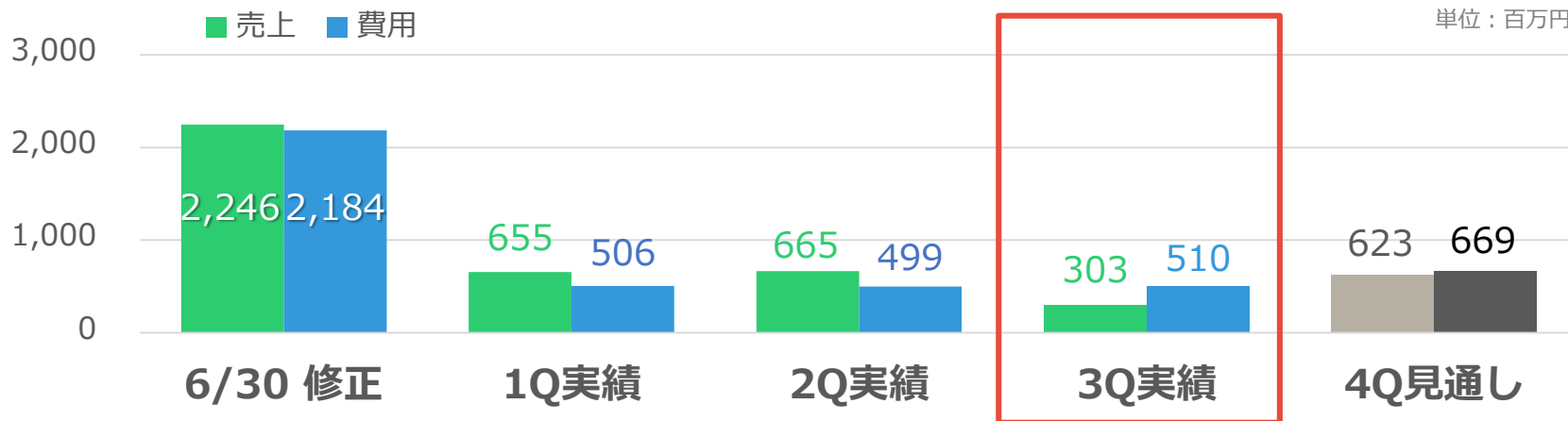
キャッシュフロー

主な増加要因：新株予約権の行使による株式の発行による収入2百万円
 主な減少要因：リース債務の返済による支出8百万円



● 今期業績見通しは据え置き

事業収益2,246百万円、事業費用2,184百万円、営業利益 61百万円



売上

- 1 Qは、旭化成ファーマとマルホからのマイルストーンを軸に655百万円を計上
- 2 Qは、シロス社からのマイルストーン 2 百万ドルのほか、販売ロイヤルティ等を軸に665百万円を計上
- 3 Qは、シロス社のマイルストーン 1 百万ドルのほか、販売ロイヤルティ等を軸に303百万円を計上
- 4 Qは、販売ロイヤルティにその他の収入を加えた623百万円を見込む

以上の結果、通期で2,246百万円を見込む

費用

- 1 Qは、事業原価41百万円、研究開発費用256百万円、その他販売費一般管理費209百万円を計上
- 2 Qは、事業原価133百万円、研究開発費用240百万円、その他販売費一般管理費126百万円を見込む
- 3 Qは、事業原価94百万円、研究開発費用284百万円、その他販売費一般管理費132百万円を見込む
- 4 Qは、事業原価63百万円、研究開発費用469百万円、その他販売費一般管理費137百万円を見込む

以上の結果、通期で2,184百万円を見込む



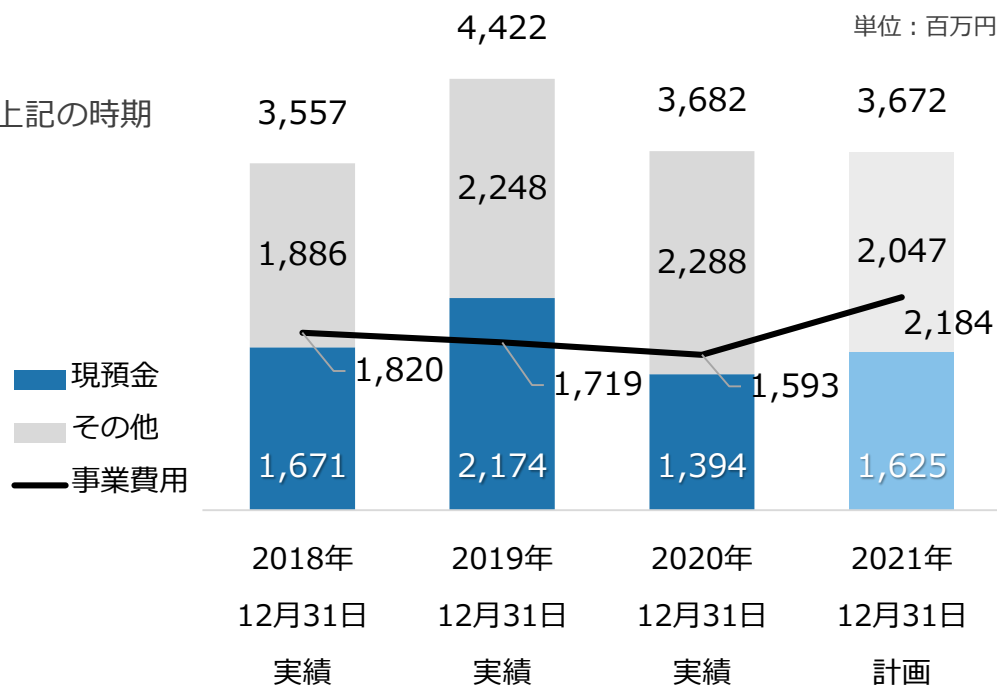
- 現状の事業費用に対する資金残高は十分に確保
- 今後の課題は、非連続な成長を達成するための戦略的選択肢を拡大するための資金調達
- 以下記載の事項を前提に検討中

時期 … 黒字化による時価総額の向上後

用途 … 臨床開発、設備投資、
パイプライン導入等

備考：パートナー候補企業との協議次第で上記の時期に拘らず調達を行う可能性があります

資金残高と事業費用



※資金残高は投資有価証券と売掛金を含んだものです。



韓国国内の売上は好調に推移¹⁾

- 院外処方実績781億ウォン（2021年度第3四半期累積）
- 2021年通期累積で1000億ウォンを突破する見込み

前年同期比
+49%

韓国での健康保険適用範囲の拡大²⁾

- 胃潰瘍治療に対する健康保険給付（2021年11月1日適用）
- びらん性および非びらん性の胃食道逆流症に次ぐ3番目の適用

メキシコにおける医薬品承認審査の進展³⁾

- びらん性および非びらん性の胃食道逆流症の治療に関し、新分子委員会（Comité de Moléculas Nuevas）が全会一致で肯定的意見を表明
- 連邦衛生リスク対策委員会によるGMP査察と承認審査を経て、2023年の承認取得を目指す

1) HKイノエン社 第3四半期暫定経営実績ならびにメディア記事（2021/11/9）；2) HKイノエン社プレスリリース（2021/11/1）；3) 当社お知らせ（2021/9/10）

当社は両教授の功績と受賞に心からの敬意と祝意を表します！

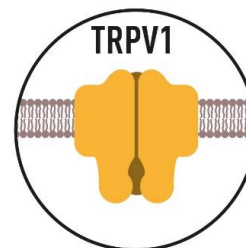


デービッド・ジュリアス
米国カリフォルニア大学
サンフランシスコ校教授



アーデム・パタプティアン
米国スクリプス研究所教授

ノーベル財団ウェブサイト¹⁾より引用
Illustration: Niklas Elmehed
©Nobel Prize Outreach



TRPV1
温度
熱・痛み

深部体温
炎症性疼痛
神経障害性疼痛
内臓痛
防衛反射



PIEZO2
触覚
固有受容

機械刺激性疼痛
排尿
呼吸
血圧
防衛反射
骨格リモデリング



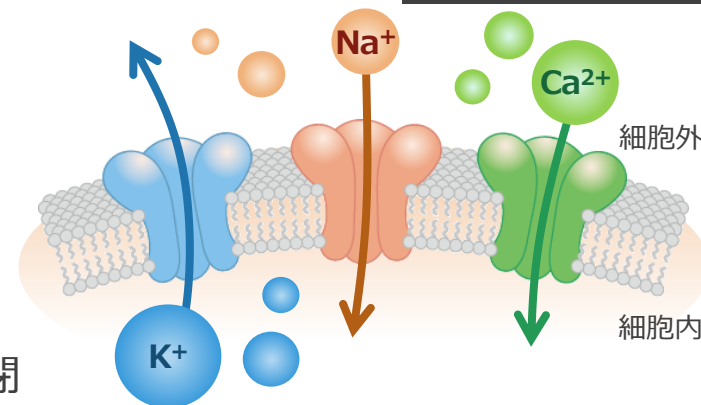
ノーベル財団プレスリリース²⁾より引用・和訳
Illustration: Mattias Karlen
©Nobel Prize Outreach

出所：1) ノーベル財団ウェブサイト (<https://www.nobelprize.org/prizes/medicine/2021/prize-announcement/>)
2) ノーベル財団プレスリリース (<https://www.nobelprize.org/prizes/medicine/2021/press-release/>)



イオンチャネルとは

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



さまざまな生理現象にイオンチャネルが深く関与

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

イオンチャネルの制御により幅広い疾患を治療できる可能性

創薬の難易度が高く、参入する企業の少ない創薬領域

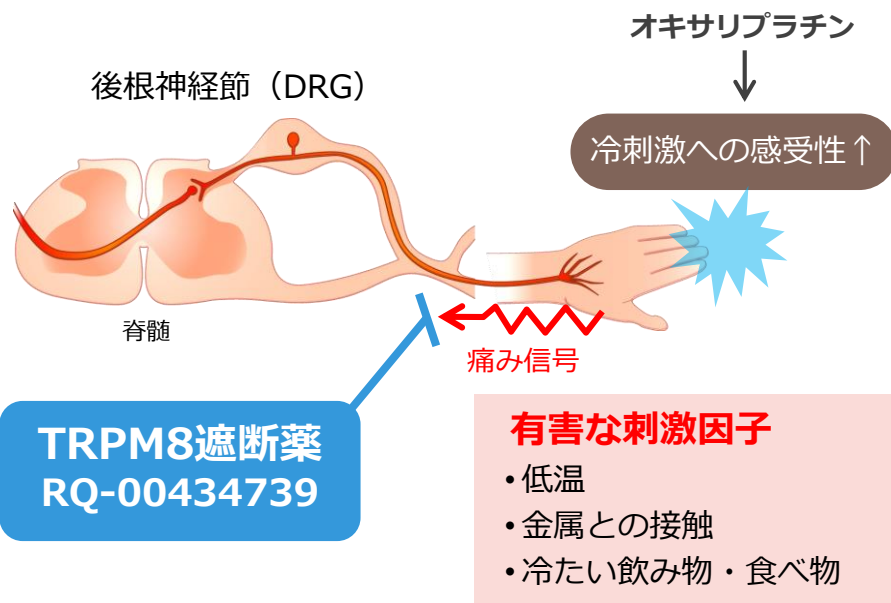
「膜電位」：細胞の内外に存在する電位差のことです。全ての細胞は細胞の中と外とでイオンの組成が異なるため、イオンの分布の差による電位差が生じています。
「リガンド」：生体分子と複合体を形成して生物学的な作用を示す物質を指します。イオンチャネルの中には特定のリガンドで開閉が調節されるものがあり、例えば、唐辛子の成分であるカプサイシンはTRPV1チャネルというイオンチャネルに結合して痛み信号を伝えます。



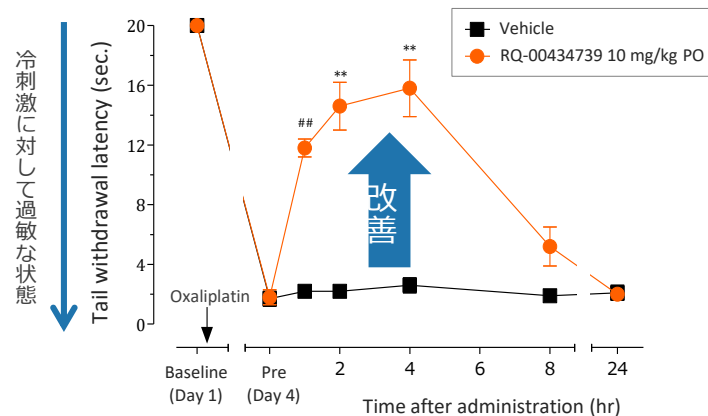
TRPM8とは

- 28度以下の冷刺激またはメントールによって活性化される温度感受性イオンチャネル
- 疼痛をはじめとする様々な病態に深く関与
 - ▶ 例：オキサリプラチンを用いたがんの化学療法を受けた患者の約90%が、冷感に対する感受性の亢進（冷アロディニア）を発症

高活性かつ高選択的なTRPM8遮断薬であるRQ-00434739は、冷感受容体であるTRPM8を直接阻害し、痛み信号の伝達を抑制する



オキサリプラチン誘発サル神経障害モデルにおけるRQ-00434739の効果



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



新規TRPM8遮断薬 (RQ-00434739) に関するライセンス契約を締結

- 日本を除く全世界を対象とした独占的な開発・製造・販売権
- 疼痛治療薬の開発に向けて、前臨床段階以降の開発をXgene社が実施
- 契約一時金、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

【Xgene社について】



名称	Xgene Pharmaceutical Co. Ltd. (昌郁醫藥有限公司)
代表者	CEO 徐景宏 (Ching-Hung Hsu, Ph.D.)
設立年月日	2016年3月18日
事業内容	医薬品の研究開発 (疼痛を含む神経疾患領域)
主要パイプライン	XG005-02 (疼痛 (acute pain)、フェーズ3 (米国))
ウェブサイト	https://xgenepharm.com

【ご参考：疼痛治療薬の市場ポテンシャル】¹⁾

医療ニーズ	侵害受容性疼痛、神経障害性疼痛、原因が見つからない慢性疼痛など。既存薬には非ステロイド抗炎症薬、非オピオイド鎮痛薬、オピオイド鎮痛薬などがあるが、効果不足、副作用、依存・乱用などの問題があり、新たな治療選択肢が強く求められている。
患者数	慢性的に痛みを抱えている成人が米国では5,000万人、国内では2,300万人を超えると推計。
市場規模	世界の疼痛治療薬市場は大きく現在も拡大傾向。 主な標準治療薬の世界売上高 ^{2,3)} ：プレガバリン (3,620億円)、セレコキシブ (1,275億円)、デュロキセチン (1,052億円)、ジクロフェナク (455億円)

1) 日経バイオ年鑑2021 (日経BP社、2020年) ; 2) 2019年のデータ ; 3) 一般名で表記



4つの開発候補化合物の全てについてライセンス契約を締結

プログラム名

概要

P2X7受容体拮抗薬

化合物コード：RQ-00466479/AK1780
旭化成ファーマ株式会社に導出
Eli Lilly社（米国）がグローバル開発を実施中

**選択的ナトリウムチャネル
遮断薬**

化合物コード：非開示
主適応症：鎮痛・鎮痒
マルホ株式会社にて開発中

特定のイオンチャネル

化合物コード：非開示
主適応症：特定の消化器疾患
EAファーマ株式会社にて開発中

TRPM8遮断薬

化合物コード：RQ-00434739
主適応症：慢性疼痛
Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.に導出



タミバロテン (TM-411/SY-1425)

- レチノイン酸受容体のαサブタイプ (RARα) に選択的に結合し強い分化誘導活性を示す
- 他の抗腫瘍剤との併用により高い相乗効果が期待できる

シロス社の開発方針・開発状況

- 骨髄異形成症候群 (MDS) および急性骨髄性白血病 (AML) 患者の約25%が高発現している RARα 遺伝子 (RARA) をバイオマーカーとしたPrecision Medicineとしての新薬承認を目指す
- 未治療高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による第Ⅲ相臨床試験 (SELECT-MDS-1) を実施中



2021年9月10日 AMLを対象とした第Ⅱ相臨床試験 (SELECT-AML-1) において最初の被験者への投与を完了

SELECT-AML-1の計画概要

- RARA陽性未治療Unfit AML患者 (約80症例)
- 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
- タミバロテン+ベネトクラクス+アザシチジン群とベネトクラクス+アザシチジン群が1:1になるよう無作為に割付けて有効性・安全性を評価
- ベネトクラクス+アザシチジン併用療法に奏功しない患者に対する救援療法の評価も含む

本マイルストンの達成に伴いテムリック社は一時金100万米ドルを受領



RaQualia
innovators for life

- News Release -



あすか製薬株式会社

2021年11月1日
ラクオリア創薬株式会社
あすか製薬株式会社

ラクオリア創薬とあすか製薬の 共同研究契約締結のお知らせ

ラクオリア創薬株式会社（本社：愛知県名古屋市、代表取締役社長：武内 博文、以下「ラクオリア創薬」）とあすか製薬株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：山口 惣大、以下「あすか製薬」）は、両社が実施中の、特定のイオンチャンネルを標的とした創薬研究に関する共同研究（以下「本共同研究」）につきまして、これまでに得られた成果を活用して新薬の創出に取り組む新たな共同研究契約（以下「本契約」）を締結しましたのでお知らせいたします。

ラクオリア創薬とあすか製薬は、新薬の創出を目指し、2019年7月より本共同研究を進めてまいりました。本年7月13日にお知らせしたとおり、当初の契約に定められた基準を満たす研究成果（以下「本研究成果」）が認められたことから、あすか製薬はラクオリア創薬にマイルストーン達成に伴う一時金を支払いました。その後、本研究成果を用いた発展的な共同研究の実施について両社で協議を進め、次段階の共同研究計画について合意に達したことから、本契約の締結に至りました。（以下省略）

**当社は今後も引き続き、あすか製薬と協同してアンメットメディカルニーズ
の解消につながる画期的な医薬品の創出に尽力します**



導出済みプログラム（ヒト）

- **P-CAB**：韓国での販売好調、中国では承認審査中で2022年に上市見込み、米国ではHKイノエン社（韓国）が第I相臨床試験（P1試験）を実施中
- **EP4拮抗薬**：AskAt社の導出先であるIkena Oncology社が臨床試験実施中
- **ジプラシドン**：Meiji Seikaファルマにおいて今後の開発計画および開発戦略に関する検討を継続

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	臨床開発						
				探索	前臨床	P1	P2	P3	承認申請	承認
カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB） K-CAB®	HKイノエン社（韓国）	胃食道逆流症	韓国	販売中（2019年3月上市）						
			中国							審査中
			米国			実施中				
			メキシコ、ベトナム、タイ、フィリピン、モンゴル							審査中
			インドネシア、シンガポール、中南米16カ国						準備中	
EP4拮抗薬	(株)AskAt	疼痛	米国				前期終了			
			中国			終了				
		がん	米国			実施中				
			中国			実施中				
		変形性関節症 自己免疫疾患 他	—			終了				
ジプラシドン	Meiji Seikaファルマ(株)	統合失調症	日本					実施中		



導出済みプログラム（ヒト）

- 各AskAt品目：COX-2阻害薬が中国にてP1試験実施中、CB2作動薬の前臨床試験が継続中
- 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬：マルホにて引き続き開発中
- P2X7受容体拮抗薬：リリー社が第2相臨床試験以降のグローバル開発を準備中
- 特定のイオンチャンネル：EAファーマにて引き続き開発中
- TRPM8遮断薬：Xgene社に導出。前臨床試験準備中

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	臨床開発								
				探索	前臨床	P1	P2	P3	承認申請	承認	販売	
5-HT ₄ 部分作動薬	(株)AskAt	アルツハイマー病	米国			終了						
COX-2阻害薬	(株)AskAt	疼痛	米国				前期終了					
			中国			実施中						
CB2作動薬	(株)AskAt	鎮痛等	—		実施中							
選択的ナトリウムチャンネル遮断薬	マルホ(株)	鎮痛・鎮痒	—	非開示								
P2X7受容体拮抗薬	旭化成ファーマ(株)／Eli Lilly and Company	神経障害性疼痛	—			終了						
特定のイオンチャンネル	EAファーマ(株)	消化器領域	—	非開示								
TRPM8遮断薬	Xgene Pharmaceutical	慢性疼痛	—		準備中							



導出済みプログラム（ペット）

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

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



導出準備プログラム

- **全てのプログラム**：導出先候補への紹介を実施。複数件の導出交渉が現在も進行中
- **グレリン受容体作動薬**：前臨床試験用の原薬製造完了。外部委託による前臨床試験へ
- **5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬、モチリン受容体作動薬**：臨床開発の実施について検討中
- **TRPM8遮断薬**：Xgene社への導出後も日本国内の権利は当社が保有

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

私たちは創薬を通じて健康と幸せに貢献し、
人々の心に陽をもたらします



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社