

カバレッジ開始日: 2022年9月9日

最終更新日: 2026年4月2日



4579

ラクオリア創薬

企業正式名称
ラクオリア創薬株式会社

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

決算月
12月

設立年月日
2008年2月19日

上場年月日
2011年7月20日

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 | 5 |
| 事業概要 | 5 |
| 業績動向 | 7 |
| 同社の強みと弱み | 7 |
| 主要経営指標の推移 | 8 |
| 直近更新内容 | 9 |
| 業績動向 | 12 |
| 四半期実績推移 | 12 |
| 2025年12月期通期実績（2026年2月13日発表） | 12 |
| 業績概要 | 12 |
| パイプラインの状況 | 14 |
| 2026年12月期通期見通し | 17 |
| 過去の期初会社予想と実績の差異 | 18 |
| 中期事業計画 | 19 |
| 新中期経営計画の目標 | 20 |
| 成長戦略：アンドラッグガブルをドラッグガブルへ | 21 |
| HKイノエン社との資本業務提携契約の締結 | 22 |
| 事業内容 | 25 |
| ビジネスモデルの概要 | 25 |
| ファイザーの日本法人中央研究所が前身 | 25 |
| 収益構造 | 25 |
| 同社の事業領域 | 26 |
| 医薬品の開発プロセス | 27 |
| 同社の創薬モダリティ（創薬手法） | 27 |
| イオンチャネル創薬 | 28 |
| 特許期間のマネジメント | 30 |
| 新規モダリティへの挑戦 | 30 |
| ビジネスモデルの変革 | 32 |
| ハイブリッド型のビジネスモデルへ | 32 |
| 創薬プラットフォームRaPPIDS™ | 35 |
| パイプラインの概要 | 36 |
| 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 | 36 |
| 導出済パイプライン（ヒト） | 36 |
| カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB（一般名：テゴブラザン） | 37 |
| テゴブラザンの世界各国における展開 | 38 |

| | |
|--|-----------|
| 日本におけるテゴプラザンの導出 | 41 |
| EP4拮抗薬 (RQ-00000007、grapiprant) | 42 |
| CB2作動薬 (RQ-00202730) | 42 |
| P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479) | 43 |
| TRPM8遮断薬 (RQ-00434739) | 43 |
| ナトリウムチャンネル遮断薬 (RQ-00350215) | 44 |
| シクロオキシゲナーゼ-2 (COX-2) 阻害剤 (RQ-00317076) | 44 |
| 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) | 44 |
| 導出済パイプライン (ペット) | 47 |
| 3つの上市製品 | 47 |
| GALLIPRANT® (EP4拮抗薬、一般名: グラピプラント) | 47 |
| ENTYCE™・ELURA™ (グレリン受容体作動薬、一般名: カプロモレリン) | 47 |
| シクロオキシゲナーゼ-2 (COX-2) 阻害剤 (RQ-00317076) | 48 |
| 新規ライセンス契約 | 48 |
| 導出準備パイプライン | 49 |
| 5-HT ₄ 作動薬 (RQ-00000010) | 49 |
| グレリン受容体作動薬 (RQ-00433412) | 49 |
| TRPM8遮断薬 (RQ-00434739) | 49 |
| モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894) | 50 |
| IRAK-M分解誘導薬 (FIM-001) | 50 |
| 探索研究段階のパイプライン | 50 |
| 市場とバリューチェーン | 52 |
| 世界の医薬品市場 | 52 |
| 消化性潰瘍薬の市場規模 | 53 |
| 国内医薬品市場の推移 | 54 |
| 日本における薬価改定の影響 | 54 |
| 世界のペット用医薬品市場規模 | 55 |
| 創薬モダリティの変遷 | 55 |
| 競合他社動向 | 56 |
| SW (Strengths, Weaknesses) 分析 | 58 |
| 強み (Strengths) | 58 |
| 弱み (Weaknesses) | 59 |
| 過去の業績と財務諸表 | 61 |
| 損益計算書 | 61 |
| 貸借対照表 | 62 |
| キャッシュフロー計算書 | 63 |
| 営業活動によるキャッシュフロー | 63 |
| 投資活動によるキャッシュフロー | 63 |

| | |
|-------------------------------------|-----------|
| 財務活動によるキャッシュフロー | 63 |
| 過去の業績 | 64 |
| 2025年12月期第3四半期累計期間実績（2025年11月14日発表） | 64 |
| 業績概要 | 64 |
| 2025年12月期第2四半期（中間期）実績（2025年8月14日発表） | 67 |
| 業績概要 | 67 |
| パイプラインの状況 | 68 |
| HKイノエン社との資本業務提携契約の締結 | 70 |
| 2025年12月期第1四半期実績（2025年5月15日発表） | 70 |
| 業績概要 | 70 |
| パイプラインの状況 | 71 |
| 2024年12月期通期実績（2025年2月14日発表） | 73 |
| 業績概要 | 73 |
| パイプラインの状況 | 74 |
| ニュース&トピックス | 76 |
| その他の情報 | 87 |
| 沿革 | 87 |
| コーポレートガバナンスおよびトップマネジメント | 88 |
| コーポレートガバナンス | 88 |
| トップマネジメント | 88 |
| 配当方針 | 89 |
| 大株主 | 89 |
| 従業員数 | 89 |

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、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である。2025年12月期の事業収益3,980百万円（前期比28.1%増）のうち56.3%をロイヤルティ収入、43.6%を契約一時金やマイルストーン収入、研究協力金などが占める。

同社は、2024年の医薬品売上高世界3位の米国の製薬会社のPfizer Inc.（NYSE PFE、以下 ファイザー社）の日本法人中央研究所が前身である。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（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13件、導出準備プログラム7件を有する。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（KOSDAQ 195940）、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、2025年12月には日本を含めた全世界における権利をHKイノエン社に供与している。

*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。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：Pottasium-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 사용되는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化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。

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サブライセンス先企業と開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。2025年12月期末時点で世界57カ国に進出し、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドル、パナマ、マレーシア、インド、タイの19カ国で販売中である。ベトナム、中南米5カ国では承認審査中、米国では承認申請準備中、カナダ、ブラジル、南アフリカ・東欧など6カ国、中東・北アフリカ地域では第Ⅲ相臨床試験の実施や申請を準備している。同社は契約に基づき、開発進展に応じたマイルストーン収入または製売上高などに応じて、HKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部を受領する。

2025年12月、同社はHKイノエン社に対し、日本を対象としたサブライセンス権付のテゴプラザンの独占的な開発・製造・販売権を導出し、同時に第三者割当増資（約1,411百万円）により資本業務提携を拡大すると発表した。HKイノエン社との関係を資本面からも強化することで、テゴプラザンを中心とした共同研究および日本国内での事業化を加速し、創薬パイプライン全体の価値向上と中長期的な収益基盤の強化を図る。調達資金は、創薬研究基盤やパイプライン拡充に向けた研究開発投資に充当するとともに、借入金（シンジケートローンによる銀行借入2,750百万円）の一部の返済を通じ

て財務体質の改善にも充てる方針である。契約一時金はないものの、事業化の進展に応じたマイルストーン収入、販売ロイヤルティ、およびHKイノエン社が提携先から受領する収益の一部を受け取る権利を有する。

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。

猫の体重減少管理の適応を持つELURA[™]は2023年に欧州で承認を取得し、2024年8月にフランスでEluracat[™]として発売された。同年2月には日本でも承認を取得し、同年11月に発売した。英国およびその他の欧州諸国、ブラジル、カナダでも承認されており、ELURA[™]の販売国が今後さらに拡大すると同社は期待する。ペット用医薬品の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、ロイヤルティ収入が減少しづらいため、安定した収益が確保できるとSR社は考える。

2024年3月、同社はファイメクス株式会社（非上場、以下 ファイメクス社）の全株式を取得し、子会社化した（「事業内容」の項に詳述）。ファイメクス社は、創業の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤（TPD）を用いて、新規医薬品の研究開発を行っている。また、独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS[™]を中核として、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下 アステラス製薬社）と共同研究を行い、開発の進捗に応じたマイルストーンや上市後のロイヤルティを受領する可能性がある。同社はファイメクス社の子会社化により、プラットフォーム技術の獲得による創業バリューチェーンの強化、ビジネスモデルのハイブリッド化による収益の増加、がん領域の強化と拡充を期待する。

同社は2021年3月から、従来の疼痛・消化器中心だった疾患領域を神経疾患へ拡大した。現在ではさらに、子会社ファイメクス社が注力するがん領域や、HKイノエン社との共同研究を念頭に置いた代謝・内分泌疾患などにも対象を広げ、アンメットメディカルニーズ*が大きい領域で恒常的に新薬を創出する方針である。導出のタイミングは、過去には契約一時金やマイルストーン収入、販売ロイヤルティ率を高めるため、POC*²（Proof of Concept）が得られるまで自社開発を行った上で導出する方針に変更した。しかし、POCの確保には一般的に2,000~5,000百万円規模の多額の投資が必要となる。そのため、2028年12月期までの新中期経営計画では、自社単独での大規模な臨床開発投資は行わず、再び「前臨床段階」での新たな開発パイプラインの創出と、早期導出に注力する方針へとシフトしている。

*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。創業においては、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を有する。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おり、細胞機能の維持や多様な生理現象に深く関与している。イオンチャネルの制御により、幅広い疾患の治療が期待できる一方で、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、目的以外のチャネルに作用すると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。化合物のデザインとスクリーニングの難易度が極めて高いことから参入企業は限られており、現在でもイオンチャ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、イオンチャネルの分野で5つのライセンス導出実績を持つ企業は世界でも同社以外になく、この実績は同社の低分子創薬における圧倒的な技術力の高さを裏付けている。難易度の高い標的を攻略してきた高度な低分子創薬のノウハウを強固な基盤としつつ、子会社ファイメクス社が有する標的タンパク質分解誘導剤（TPD）技術や、mRNAを標的とする低分子医薬品（Veritas in Silico社との共同研究）などへと研究領域を大きく拡張しており、従来の枠を超えた次世代創薬企業へと進化している。開発初期段階での導出は契約条件が低くなりやすいという課題に対しては、ファイメクス社のTPD技術など、世界的に注目度の高い新規モダリティを掛け合わせることで、前臨床段階であってもメガファーマなどから高い評価を引き出し、有利な条件での提携に結び付ける戦略を取っている。

業績動向

2025年12月期実績は、事業収益3,980百万円（前期比28.1%増）、営業利益484百万円（前期は213百万円の損失）、経常利益438百万円（同362百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純利益273百万円（同495百万円の損失）となった。契約一時金およびマイルストーン収入などその他の収入が期初計画を207百万円下回ったものの、テゴプラザンおよびペット用医薬品に係る販売ロイヤルティ収入が好調に推移した。その他収益（契約一時金・マイルストーン・研究一時金を含む）も前期比49.4%増加して、事業収益は過去最高を更新した。委託試験の期ずれなどにより研究開発費は期初計画を下回り、費用管理の徹底により事業費用が圧縮された結果、各段階利益は黒字に転換した。

2026年12月期連結業績予想は、事業収益3,980百万円（前期比横ばい）、営業利益165百万円（同65.9%減）、経常利益86百万円（同80.4%減）、親会社株主に帰属する当期純損失63百万円（前期は273百万円の利益）。事業収益は、テゴプラザンのグローバル展開の拡大によるロイヤルティ収入の順調な増加を想定し、子会社を含め契約一時金やマイルストーン、研究協力金収入の獲得を予定している。同社単体の事業収益は2,969百万円（同2.2%増）、子会社ファイメクス社の事業収益は1,011百万円（同6.0%減）を見込んでいる。一方、事業費用は、3,814百万円（同9.1%増）を予想する。

同社は2025年12月期の決算発表と同時に、2026年12月期から2028年12月期までの3年間の中期経営計画における数値目標を更新した。最終年度となる2028年12月期の事業収益目標は、事業収益4,686百万円、営業利益909百万円、経常利益864百万円、当期純利益676百万円。2028年はテゴプラザンのグローバル展開の拡大が継続し、米国における製品販売に基づくロイヤルティが収益に寄与し始めると予想する。3年間の事業収益見通しは合計12,800百万円と見込んでおり、探索研究に7,200百万円、前臨床・臨床開発に300百万円を投資する計画である。株主還元についても財務基盤強化に応じて配当を実施し、自己株式の取得を機動的に検討するとしている。

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) イオンチャネル創薬で培った、製薬企業基準の研究プロセスに基づく高度な低分子創薬基盤を有すること
- 2) 「特許」を数百件保有すること
- 3) 子会社ファイメクス社が有する独自のTPD（標的タンパク質分解誘導剤）創薬プラットフォーム「RaPPIDS™」による高い創出力

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）の偏りによる収益成長の制約

*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提携先の開発進捗や事業戦略に依存し、収益化時期の不確実性が中長期の業績見通しを低下させていること
- 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 | 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 | 24年12月期 | 25年12月期 | 26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 | 会予 |
| 事業収益 | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 3,108 | 3,980 | 3,980 |
| 前年比 | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.7% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 63.5% | 28.1% | 28.1% |
| 事業費用 | 1,465 | 1,570 | 1,820 | 1,719 | 1,593 | 2,068 | 2,052 | 2,239 | 3,321 | 3,496 | 3,814 |
| 前年比 | -27.1% | 7.1% | 15.9% | -5.5% | -7.3% | 29.8% | -0.8% | 9.1% | 48.4% | 5.3% | 14.8% |
| 営業利益 | -760 | -150 | -1,075 | -16 | -486 | 708 | 866 | -337 | -213 | 484 | 165 |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | 22.4% | - | - | - | - |
| 営業利益率 | - | - | - | - | - | 25.5% | 29.7% | - | - | 12.2% | 4.1% |
| 経常利益 | -721 | -81 | -1,065 | 22 | -528 | 864 | 904 | -293 | -362 | 438 | 86 |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | 4.7% | - | - | - | - |
| 経常利益率 | - | - | - | 1.3% | - | 31.1% | 31.0% | - | - | 11.0% | 2.2% |
| 当期純利益 | -728 | -58 | -1,105 | 5 | -607 | 756 | 723 | -324 | -495 | 273 | -63 |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | -4.3% | - | - | - | - |
| 純利益率 | - | - | - | 0.3% | - | 27.2% | 24.8% | - | - | 6.9% | - |
| 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) | 18,767 | 20,295 | 20,388 | 20,950 | 20,952 | 20,955 | 20,977 | 21,623 | 21,839 | 24,459 | - |
| EPS (円) | -38.8 | -3.0 | -54.2 | 0.3 | -29.0 | 36.1 | 34.5 | -15.0 | -22.9 | 11.5 | -2.6 |
| EPS (潜在株式調整後) (円) | - | - | - | 0.3 | - | 36.0 | 34.5 | - | - | 11.4 | - |
| DPS (円) | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| BPS (円) | 201 | 240 | 189 | 220 | 191 | 228 | 262 | 282 | 254 | 280 | - |
| 貸借対照表 (百万円) | | | | | | | | | | | |
| 現金・預金・有価証券 | 1,428 | 2,268 | 1,671 | 2,174 | 1,394 | 2,345 | 3,675 | 3,715 | 3,340 | 3,241 | - |
| 流動資産合計 | 1,806 | 3,322 | 1,962 | 3,067 | 2,834 | 4,004 | 4,822 | 4,957 | 4,539 | 5,682 | - |
| 有形固定資産 | 249 | 216 | 318 | 249 | 333 | 299 | 391 | 574 | 529 | 436 | - |
| 投資その他の資産計 | 1,951 | 1,516 | 1,738 | 1,488 | 1,051 | 897 | 1,020 | 1,311 | 685 | 662 | - |
| 無形固定資産 | 13 | 10 | 34 | 32 | 33 | 34 | 24 | 30 | 3,902 | 3,733 | - |
| 資産合計 | 4,019 | 5,064 | 4,052 | 4,837 | 4,251 | 5,234 | 6,258 | 6,872 | 9,655 | 10,514 | - |
| 短期有利子負債 | - | - | 1 | 1 | 18 | 22 | 46 | 77 | 582 | 591 | - |
| 流動負債合計 | 190 | 149 | 164 | 183 | 187 | 401 | 494 | 389 | 1,187 | 1,275 | - |
| 長期有利子負債 | - | - | 2 | 2 | 27 | 18 | 177 | 291 | 2,870 | 2,311 | - |
| 固定負債合計 | 41 | 27 | 31 | 33 | 53 | 46 | 267 | 362 | 2,897 | 2,343 | - |
| 負債合計 | 231 | 176 | 195 | 216 | 240 | 446 | 761 | 752 | 4,085 | 3,618 | - |
| 自己資本 | 3,773 | 4,871 | 3,845 | 4,608 | 3,999 | 4,777 | 5,489 | 6,095 | 5,543 | 6,848 | - |
| 純資産合計 | 3,788 | 4,888 | 3,857 | 4,621 | 4,011 | 4,788 | 5,497 | 6,120 | 5,571 | 6,896 | - |
| 有利子負債 (短期及び長期) | - | - | 3 | 2 | 46 | 39 | 222 | 368 | 3,452 | 2,902 | - |
| 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 | -681 | -307 | -404 | -531 | -289 | 366 | 1,480 | -719 | 181 | -354 | - |
| 投資活動によるキャッシュフロー | -441 | 534 | -368 | 216 | 225 | -279 | -48 | -135 | -3,666 | 124 | - |
| 財務活動によるキャッシュフロー | - | 1,007 | 99 | 696 | -7 | -16 | -30 | 793 | 2,982 | 378 | - |
| 財務指標 | | | | | | | | | | | |
| 総資産経常利益率 (ROA) | -16.4% | -1.8% | -23.4% | 0.5% | -11.6% | 18.2% | 15.7% | -4.5% | -4.4% | 4.3% | - |
| 自己資本純利益率 (ROE) | -17.6% | -1.3% | -25.3% | 0.1% | -14.1% | 17.2% | 14.1% | -5.6% | -8.5% | 4.4% | - |
| 自己資本比率 | 93.9% | 96.2% | 94.9% | 95.3% | 94.1% | 91.3% | 87.7% | 88.7% | 57.4% | 65.1% | - |

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

CB2作動薬の導出先におけるライセンス契約の状況に関して発表

2026年2月20日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、同社が株式会社AskAt（非上場、以下 AskAt社）に導出したCB2作動薬について、AskAt社がOxford Cannabinoid Technologies Ltd.（LON OCTP、以下 OCT社）との間で締結したライセンス契約を解約した、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、同社がAskAt社に導出したCB2作動薬（化合物コード：RQ-00202730/AAT-730/OCT461201）について、AskAt社が2019年9月にOCT社との間で締結したライセンス契約を解約したことを発表した。同社は2015年11月、AskAt社との間でCB2作動薬に関する権利売買契約を締結した。当該契約に基づき、同社はCB2作動薬に関する知的財産権をAskAt社に譲渡するとともに、AskAt社がCB2作動薬により得る収益の一定料率をロイヤリティ収入として受領する権利を保有している。

2023年7月、OCT社がCB2作動薬の第Ⅰ相臨床試験を英国で開始し、化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）を主な適応症として臨床開発を進めることを計画していた。同社によれば、今回の解約はOCT社による契約違反によるものであり、開発上の理由で解約に至ったものではない。AskAt社はCB2作動薬の開発を継続すべく、新たなパートナーを探索する。同社は今後も引き続きAskAt社との連携をより強固にし、開発支援ならびにライセンス契約支援を継続して実施する方針である。

なお、同社によれば、本件による2026年12月期の通期連結業績への影響はない。

IRAK-Mタンパク質分解誘導剤（複素環化合物）の日本における特許査定に関して発表

2026年1月26日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、連結子会社であるファイメクス株式会社（以下 ファイメクス社）が創出したIRAK-Mタンパク質分解誘導剤（複素環化合物）の物質特許（出願番号：特願2021-535473）について、日本における特許査定の通知を受領した、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

特許査定とは、審査の結果、特許権を付与する価値がある発明であると判断されたことを示すものであり、所定の特許料を納付することで特許権の効力が発生する。

今回特許査定を受けた化合物群は、IRAK-Mタンパク質の分解を誘導する複数の新規化合物で構成されており、ファイメクス社が前臨床開発を進めているFIM-001も含まれる。同特許はFIM-001とその周辺化合物を包含する物質特許であり、特許査定により、日本におけるFIM-001の知的財産権が一層強化されることとなる。

本件は国際出願に基づく各国移行の一環であり、現在、他の国・地域においても審査が進行している。中国、韓国、台湾、香港、ロシア、オーストラリア、メキシコでは、既に登録または特許査定を受領しており、日米欧の主要国の中で特許査定がなされるのは日本が初めてである。

IRAK-Mは、自然免疫シグナルを負に制御するタンパク質として知られており、がん免疫抑制への関与が報告されている。ファイメクス社が開発したIRAK-Mタンパク質分解誘導剤は、IRAK-Mタンパク質に選択的に結合し、その分解を誘導することで、がん免疫応答を活性化する。近年主流となっている免疫チェックポイント阻害剤に抵抗性を示す動物モデルを含む複数のがん動物モデルにおいて、抗腫瘍効果が確認されているという。

今回特許査定を受けた化合物群は、ファイメクス社が強みとする創薬プラットフォーム「RaPPIDS™」から創出されたものである。同社はRaPPIDS™を活用した創薬研究開発を継続するとともに、知的財産の強化・拡充を進め、FIM-001をはじめとするパイプラインの開発および将来的な事業化・パートナーリングに向けた基盤構築を進める方針である。

なお、当社によれば、今回の特許査定による2026年12月期の連結業績への影響はない。今回特許査定を受けたIRAK-Mタンパク質分解誘導剤（複素環化合物）については、今後の研究開発の進展を通じて、中長期的に当社グループの企業価値向上に寄与する可能性があるとしている。

TRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の米国における特許査定に関して発表

2026年1月23日

ラクオリア創薬株式会社（以下 当社）は、当社が創出したTRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の物質特許（出願番号 17/921,203）については、これまで米国で審査中であったが、同日に特許査定連絡を受けた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

ピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、TRPV4拮抗作用を有する新規な化合物群であり、今回の特許査定により、中国、日本、欧州に続き、米国においても同社の知的財産権が強化されることとなった。

当社が創出したTRPV4拮抗薬は、TRPV4イオンチャネル受容体に対して特異的に作用し、複数の疼痛・炎症および眼疾患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。当社は2016年より、岐阜市公立大学法人岐阜薬科大学との間で、眼疾患に関する産学共同研究を開始し、2021年4月に岐阜薬科大学内に共同研究講座を設置した。当社と岐阜薬科大学薬効解析学研究室が実施した共同研究の成果については、2023年に、TRPV4を標的とした新規治療薬が網膜疾患における網膜血管障害の新たな治療オプションとなる可能性を示す内容の論文を発表し、2025年の第45回日本眼薬理学会では後眼部疾患に対する低分子創薬アプローチとして、同社のTRPV4拮抗薬が紹介されている。

TRPV4拮抗薬は、当社の強みであるイオンチャネル創薬の成果であり、当社は今後も知的財産のポートフォリオの強化・充実を図る方針である。特許査定を受けたピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、今後の開発などを通じて、中長期的に企業価値の向上に寄与するものと当社は考える。

なお、当社によれば、本件による2026年12月期の同社業績への影響はない。

胃酸分泌抑制剤tegoprazanの米国における販売承認申請に関して発表

2026年1月13日

ラクオリア創薬株式会社（以下 当社）は、胃酸分泌抑制剤tegoprazanの米国における販売承認申請に関して発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

当社のライセンス先であるHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）およびサブライセンス先の米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（以下 Sebela社）は、当社がHKイノエン社を通じてSebela社に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazanについて、Sebela社の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）が、EE（びらん性胃食道逆流症）、NERD（非びらん性胃食道逆流症）およびEE治癒後の維持療法を対象として、米国FDAに承認申請を提出したと発表した。

Tegoprazanは、当社が創出したカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（Potassium Competitive Acid Blocker：P-CAB）と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃食道逆流症治療の第一選択薬であるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで作用し、PPIよりも速やか、かつ持続的に胃酸分泌を抑制するという特長を持つ新世代の治療薬である。

Tegoprazanは、HKイノエン社により販売名「KCAB[®]」として2019年に韓国で販売され、2024年までに韓国国内売上（院外処方実績）累積で7,054億ウォン（約70,540百万円、1韓国ウォン0.11円換算）に達する大型製品となっており、韓国における胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。Tegoprazanは、日本を含む世界55カ国で開発・製造・販売等の事業活動が行われており、tegoprazan製品が販売されている国は19カ国に達している。

当社は2010年9月、CJ HealthCare Corporation（現HKイノエン社）との間で、tegoprazanの東アジア地域を対象とした開発・製造および販売に関する、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た。その後、2019年11月には北米・欧州を対象とした提携拡大契約を締結した。2021年12月、HKイノエン社はSebela社の一部門で

ある、消化器疾患治療薬専門企業のBraintree社との間で、米国およびカナダにおける独占的な開発・製造および販売権に関するライセンス契約を締結した。

Sebela社は2025年4月、EE試験の治癒フェーズとNERD試験の双方において、すべての主要評価項目および副次評価項目を達成したと発表した。また、同年8月には、継続して実施されていたEE治癒後の維持療法についても良好な試験結果が得られたことを発表した。Braintree社は、2026年1月9日に米国FDAに承認申請を提出しており、承認は2027年1月に見込まれている。世界の消化性潰瘍治療剤の市場規模は約2兆円とされ、米国はそのうちおよそ20%を占めると推測されている。現在、北米地域での胃食道逆流症の治療には主にPPIが用いられているが、PPIでは効果が十分に得られない胸焼け症状や食道粘膜障害を有する患者が約40%を占めるなど、PPI治療の限界が指摘されている。Tegoprazanが胃食道逆流症治療の新たな選択肢として、これらの未充足ニーズの解消に貢献することを同社は期待している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受領する権利を保有している。本件により同社が受け取る一時金はないものの、主要市場の一つである米国における販売承認申請は、tegoprazanの事業展開における重要な進捗であり、同社グループの中長期的な価値向上に資するものと同社は考えている。

TRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の欧州における特許査定に関して発表

2026年1月8日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、同社が創出したTRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の物質特許について、これまで欧州で審査中であったが、同日に特許査定連絡を受けた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

ピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、TRPV4拮抗作用を有する新規な化合物群であり、今回の特許査定により、中国、日本に続き、欧州においても同社の知的財産権が強化される事となった。

同社が創出したTRPV4拮抗薬は、TRPV4イオンチャネル受容体に対して特異的に作用し、複数の疼痛・炎症および眼疾患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。同社は2016年より、岐阜市公立大学法人岐阜薬科大学との間で、眼疾患に関する産学共同研究を開始し、2021年4月に岐阜薬科大学内に共同研究講座を設置した。同社と岐阜薬科大学薬効解析学研究室が実施した共同研究の成果については、2023年に、TRPV4を標的とした新規治療薬が網膜疾患における網膜血管障害の新たな治療オプションとなる可能性を示す内容の論文を発表し、2025年の第45回日本眼薬理学会では後眼部疾患に対する低分子創薬アプローチとして、同社のTRPV4拮抗薬が紹介されている。

TRPV4拮抗薬は、同社の強みであるイオンチャネル創薬の成果であり、同社は今後も知的財産のポートフォリオの強化・充実を図る方針である。特許査定を受けたピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、今後の開発などを通じて、中長期的に企業価値の向上に寄与するものと同社は考える。

なお、同社によれば、本件による2026年12月期の同社業績への影響はない。

業績動向

四半期実績推移

| 四半期業績推移 (累計) (百万円) | 24年12月期 | | | | 25年12月期 | | | | 25年12月期 | |
|-----------------------|---------|--------|--------|--------|---------|--------|--------|--------|---------|-------|
| | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 達成率 | 通期会予 |
| 事業収益 | 649 | 1,411 | 2,369 | 3,108 | 965 | 1,536 | 2,311 | 3,980 | 102.4% | 3,888 |
| 前年同期比 | 75.1% | 39.1% | 58.4% | 63.5% | 48.8% | 8.9% | -2.5% | 28.1% | | 25.1% |
| 事業費用 | 604 | 1,565 | 2,397 | 3,321 | 872 | 1,726 | 2,656 | 3,496 | 92.8% | 3,769 |
| 前年同期比 | 26.0% | 50.9% | 49.5% | 48.4% | 44.4% | 10.3% | 10.8% | 5.3% | | 13.5% |
| 事業費比率 | 93.1% | 110.9% | 101.1% | 106.9% | 90.4% | 112.4% | 114.9% | 87.8% | | - |
| 事業原価 | 61 | 227 | 397 | 626 | 222 | 389 | 547 | 712 | | |
| 前年同期比 | 1.9% | 85.6% | 109.5% | 155.4% | 267.3% | 71.4% | 37.9% | 13.8% | | |
| 原価率 | 9.3% | 16.1% | 16.7% | 20.1% | 23.0% | 25.3% | 23.7% | 17.9% | | |
| 研究開発費 | 359 | 833 | 1,255 | 1,704 | 385 | 782 | 1,237 | 1,600 | 94.1% | 1,700 |
| 前年同期比 | 33.8% | 38.0% | 34.3% | 24.1% | 7.3% | -6.1% | -1.5% | -6.1% | | -0.2% |
| 研究開発費比率 | 55.4% | 59.0% | 53.0% | 54.8% | 39.9% | 50.9% | 53.5% | 40.2% | | |
| その他の販管費 | 185 | 506 | 745 | 991 | 265 | 555 | 872 | 1,184 | | |
| 前年同期比 | 21.8% | 62.1% | 55.2% | 59.6% | 43.6% | 9.7% | 17.1% | 19.5% | | |
| その他の販管費率 | 28.5% | 35.8% | 31.4% | 31.9% | 27.4% | 36.1% | 37.7% | 29.8% | | |
| 営業利益 | 45 | -154 | -27 | -213 | 93 | -190 | -345 | 484 | 409.9% | 118 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 109.2% | - | - | - | | - |
| 営業利益率 | 6.9% | - | - | - | 9.6% | - | - | 12.2% | | 3.0% |
| 経常利益 | -77 | -278 | -231 | -362 | 29 | -291 | -427 | 438 | 599.9% | 73 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | - | - | | - |
| 経常利益率 | - | - | - | - | 3.0% | - | - | 11.0% | | 1.9% |
| 四半期純利益 | -78 | -324 | -340 | -495 | -5 | -355 | -569 | 273 | - | -71 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | - | - | | - |
| 四半期純利益率 | - | - | - | - | - | - | - | 6.9% | | - |
| 四半期業績推移 (百万円) | 24年12月期 | | | | 25年12月期 | | | | | |
| | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | | |
| 事業収益 | 649 | 762 | 958 | 738 | 965 | 571 | 775 | 1,669 | | |
| 前年同期比 | 75.1% | 18.5% | 99.1% | 81.9% | 48.8% | -25.2% | -19.1% | 126.1% | | |
| 事業費用 | 604 | 961 | 831 | 924 | 872 | 854 | 930 | 840 | | |
| 前年同期比 | 26.0% | 72.2% | 46.9% | 45.6% | 44.4% | -11.2% | 11.8% | -9.1% | | |
| 事業費比率 | 93.1% | 126.1% | 86.7% | 125.2% | 90.4% | 149.7% | 119.9% | 50.4% | | |
| 事業原価 | 61 | 166 | 170 | 229 | 222 | 167 | 158 | 165 | | |
| 前年同期比 | 1.9% | 164.8% | 153.0% | 311.5% | 267.3% | 0.2% | -6.9% | -28.0% | | |
| 研究開発費比率 | 9.3% | 21.8% | 17.7% | 31.0% | 23.0% | 29.2% | 20.4% | 9.9% | | |
| 研究開発費 | 359 | 474 | 423 | 449 | 385 | 397 | 455 | 363 | | |
| 前年同期比 | 33.8% | 41.4% | 27.6% | 2.4% | 7.3% | -16.1% | 7.6% | -19.1% | | |
| 研究開発費比率 | 55.4% | 62.1% | 44.1% | 60.8% | 39.9% | 69.6% | 58.7% | 21.7% | | |
| その他の販管費 | 185 | 321 | 239 | 247 | 265 | 290 | 317 | 313 | | |
| 前年同期比 | 21.8% | 100.3% | 42.4% | 74.6% | 43.6% | -9.7% | 32.6% | 26.8% | | |
| 研究開発費比率 | 28.5% | 42.1% | 24.9% | 33.4% | 27.4% | 50.8% | 40.9% | 18.7% | | |
| 営業利益 | 45 | -199 | 127 | -186 | 93 | -283 | -155 | 828 | | |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 109.2% | - | - | - | | |
| 営業利益率 | 6.9% | - | 13.3% | - | 9.6% | - | - | 49.6% | | |
| 経常利益 | -77 | -200 | 46 | -130 | 29 | -321 | -135 | 865 | | |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | - | - | | |
| 経常利益率 | - | - | 4.8% | - | 3.0% | - | - | 51.8% | | |
| 四半期純利益 | -78 | -246 | -16 | -155 | -5 | -350 | -214 | 842 | | |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | - | - | | |
| 四半期純利益率 | - | - | - | - | - | - | - | 50.5% | | |

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。

2025年12月期通期実績（2026年2月13日発表）

業績概要

2025年12月期通期（2025年1月～12月）実績

- 事業収益：3,980百万円（前期比28.1%増）
- 営業利益：484百万円（前期は213百万円の損失）
- 経常利益：438百万円（同362百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する当期純利益：273百万円（同495百万円の損失）

- 研究開発費：1,600百万円（前期比6.1%減）

2025年12月期の事業収益は前期比28.1%増となり、過去最高を更新した。通期業績予想に対する事業収益の達成率は、102.4%となった。事業収益が期初目標を上回って着地し、事業費用が減少したこともあり、各段階利益は黒字に転換した。

当期における収益および費用の状況

2025年12月期は過去最高の売上収益を達成し、黒字に転換した。ロイヤルティ収入は2,242百万円（前期比15.3%増）と、想定を大きく上回った。上市品4製品からのロイヤルティ収入が順調に伸長したほか、テゴプラザンの韓国における売り上げ好調やグローバル展開に伴い、関連するロイヤルティ収入も拡大した。契約一時金・マイルストーン・研究協力金を含むその他収益は計画には未達となったものの、1,737百万円（同49.4%増）に増加した。

費用面では、事業原価が712百万円（前期比13.8%増）、研究開発費が1,600百万円（同6.1%減）、その他販売費及び一般管理費が1,184百万円（同19.5%増）となった。研究開発費の減少はグレリン受容体作動薬やIRAK-M分解誘導薬の委託試験の期ずれが主因であり、期初計画を下回ったが、開発スケジュール自体にネガティブな遅れは生じていない。加えて、費用管理の徹底により事業費用が圧縮されたことなどから、事業費用の総額は3,496百万円（同5.3%増）、営業利益は484百万円（前期は213百万円の損失）となった。EBITDAは965百万円（同421.6%増）となり、同社が重視するキャッシュ創出力は大きく改善した。

営業外収益としてデリバティブ評価益26百万円や受取利息17百万円、受取配当金7百万円など計70百万円（前期比3.4%増）を計上した一方で、為替差損41百万円や支払利息59百万円など営業外費用116百万円（同46.4%減）を計上し、営業外収支はマイナスとなった。

事業収益の内訳

| 四半期業績推移（累計） （百万円） | 24年12月期 | | | | 25年12月期 | | | |
|-----------------------|---------|-------|--------|--------|---------|--------|--------|---------|
| | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q |
| 事業収益 | 649 | 1,411 | 2,369 | 3,108 | 965 | 1,536 | 2,311 | 3,980 |
| 前年同期比 | 75.1% | 39.1% | 58.4% | 63.5% | 48.8% | 8.9% | -2.5% | 28.1% |
| ロイヤルティ | 551 | 998 | 1,493 | 1,944 | 614 | 1,073 | 1,703 | 2,242 |
| 前年同期比 | 57.4% | 36.3% | 24.6% | 21.2% | 11.4% | 7.5% | 14.1% | 15.3% |
| 構成比 | 85.0% | 70.7% | 63.0% | 62.6% | 63.6% | 69.9% | 73.7% | 56.3% |
| その他（契約一時金・マイルストーン） | 97 | 413 | 876 | 1,163 | 351 | 462 | 607 | 1,737 |
| 前年同期比 | 385.0% | 46.5% | 194.9% | 292.0% | 261.9% | 11.9% | -30.7% | 49.4% |
| 構成比 | 15.0% | 29.3% | 37.0% | 37.4% | 36.4% | 30.1% | 26.3% | 43.6% |
| 研究開発費 | 359 | 833 | 1,255 | 1,704 | 385 | 782 | 1,237 | 1,600 |
| 前年同期比 | 33.8% | 38.0% | 34.3% | 24.1% | 7.3% | -6.1% | -1.5% | -6.1% |
| 営業利益 | 45 | -154 | -27 | -213 | 93 | -190 | -345 | 484 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 109.2% | - | - | -326.7% |
| 営業利益率 | 6.9% | - | - | - | 9.6% | - | - | 12.2% |
| 四半期業績推移（3カ月） （百万円） | 24年12月期 | | | | 25年12月期 | | | |
| | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q |
| 事業収益 | 649 | 762 | 958 | 738 | 965 | 571 | 775 | 1,669 |
| 前年同期比 | 75.1% | 18.5% | 99.1% | 81.9% | 48.8% | -25.2% | -19.1% | 126.1% |
| ロイヤルティ | 551 | 447 | 495 | 451 | 614 | 459 | 630 | 539 |
| 前年同期比 | 57.4% | 17.0% | 6.2% | 11.1% | 11.4% | 2.7% | 27.3% | 19.5% |
| 構成比 | 85.0% | 58.6% | 51.6% | 61.1% | 63.6% | 80.4% | 81.3% | 32.3% |
| その他（契約一時金・マイルストーン） | 97 | 316 | 463 | 287 | 351 | 111 | 145 | 1,130 |
| 前年同期比 | 385.0% | 20.6% | - | - | 261.9% | -64.9% | -68.7% | 293.7% |
| 構成比 | 15.0% | 41.4% | 48.3% | 38.9% | 36.4% | 19.5% | 18.7% | 67.7% |
| 研究開発費 | 359 | 474 | 423 | 449 | 385 | 397 | 455 | 363 |
| 前年同期比 | 34.0% | 41.4% | 27.6% | 2.4% | 7.3% | -16.1% | 7.6% | -19.1% |
| 営業利益 | 45 | -199 | 127 | -186 | 93 | -283 | -155 | 828 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 109.2% | - | - | - |
| 営業利益率 | 6.9% | - | 13.3% | - | 9.6% | - | - | 49.6% |

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

パイプラインの状況

| | 前臨床 | フェーズ1 (第I相) | フェーズ2 (第II相) | フェーズ3 (第III相) |
|------------------------------------|--------------------------------------|---|----------------------------|---------------|
| 導出済 | 5-HT4作動薬 (消化管運動障害・動物薬) Vetbiolix社 | テゴプラザン (日本) (胃食道逆流症ほか) | COX2阻害薬 (疼痛・動物薬) AskAt社 | |
| | 特定の4化合物 (ペット用医薬品) Velovia社 | TRPM8遮断薬 (疼痛) Xgene Pharmaceutical社 | EP4拮抗薬 (疼痛) AskAt社 | |
| | EP4拮抗薬 (変形性関節症ほか) AskAt社 | CB2作動薬 (化学療法誘発性末梢神経障害ほか) AskAt社/OCT社 | COX2阻害薬 (疼痛) AskAt社 | |
| | | EP4拮抗薬 (がん・がん免疫) AskAt社 | | |
| | 5-HT4部分作動薬 (アルツハイマー病) AskAt社 | | | |
| 開発段階非開示 | | | | |
| | 選択的ナトリウムチャネル遮断薬 (疼痛) 久光製薬社 | P2X7受容体拮抗薬 (一) 旭化成ファーマ社/リリー社 | | |
| 導出準備 | 前臨床 | フェーズ1 (第I相) | フェーズ2 (第II相) | フェーズ3 (第III相) |
| | モチリン受容体作動薬 (胃不全麻痺ほか) | 5-HT4作動薬 (胃不全麻痺ほか) | | |
| | グレリン受容体作動薬 (便秘、悪液質、食欲不振) | 5-HT2B拮抗薬 (下痢型IBS) | | |
| | TRPM8遮断薬 (日本) (慢性疼痛) | | | |
| IRAK-M分解誘導薬 (ファイメクス社) (がん・がん免疫) | | | | |

出所：会社資料よりSR社作成 (2026年2月現在)

* 上記のほか、導出準備プログラムとして、選択的ナトリウムチャネル遮断薬 (鎮痛・鎮痒)、タミバロテン (がん) が臨床段階にある

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)、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。

ペット用医薬品によるロイヤルティ収入は、主に2021年に年間売上が10,000百万円を超えるブロックバスター製品に成長したGALLIPRANT®による寄与が大きい。同社によれば、GALLIPRANT®は依然としてピークアウトの兆候はなく、堅調に推移している。また、ペット用医薬品の上市3製品は、新たな国・地域での承認・販売が進行している。

韓国市場におけるテゴプラザンの状況

テゴプラザン (K-CAB®) は、韓国における売り上げが引き続き順調に推移した。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®」の当期における売り上げ (院外処方データ) は、2,179億ウォン (前期比10.7%増、約23,969百万円、1韓国ウォン0.11円換算) となった。韓国の消化性潰瘍治療薬市場におけるK-CAB®の市場シェアは15%で、引き続き第1位を維持している。

韓国市場における特許係争 (権利範囲確認審判) については、韓国の後発品メーカーなど60社以上により消極的権利確認審判が請求され、延長された特許権の効力範囲について争った。当期は特許審判院の審決 (第一審に相当)、審決取消訴訟 (第二審) に続き、2025年11月には韓国大法院 (第三審) においても、全件勝訴判決となった。これにより、韓国において2031年までのK-CAB®の独占的販売権が確立された。

テゴプラザンの世界各国における展開

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いる。HKイノエン社およびHKイノエン社からライセンスまたは製品輸出を受けた世界各国の提携先企業 (以下 サブライセンス先企業) が、テゴプラザンの事業活動を進めている。HKイノエン社は2028年までに世界100カ国に進出し、2030年には全世界におけるテゴプラザン製品の年間売上高3兆ウォンの達成を目指しており、当期末時点で、テゴプラザンは世界57カ国に進出している。

当期において、HKイノエン社は2025年1月、Southern XP IP Pty Ltd (非上場、以下 Southern XP社) とライセンス契約を締結し、Southern XP社はオーストラリアおよびニュージーランドにおけるテゴプラザン製品の独占流通および販売権

を取得したことを発表した。Southern XP社は、20年以上製薬事業を営んできたオーストラリアの製薬会社で、オーストラリアおよびニュージーランド内の医薬品の登録および流通に強みを持つ。

2025年4月には、HKイノエン社はTabuk Pharmaceutical Manufacturing Company（非上場、以下 Tabuk社）との間で、中東・北アフリカ地域において2024年4月に締結したライセンス契約の地域拡大契約を締結した。これにより、Tabuk社の対象地域は、エジプト、スーダン、エチオピア、モロッコ、イエメン、リビアの6カ国が追加となり、合計16カ国に拡大された。

さらに、提携先であるDr. Reddy's Laboratories（NSE DRREDDY）がインドで販売承認を取得したことに伴い、マイルストンの達成が認定され、同社はHKイノエン社から一時金400万米ドル（約620百万円、1米ドル155円換算）を受領を受領した。インドの消化性潰瘍薬の市場規模は、2024年時点で約1兆5,200億ウォン（約167,200百万円、同）と評価されており、中国、米国、日本に次ぐ世界第4位の規模である。

当期末時点でテゴプラザンが販売されているのは、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドル、パナマ、マレーシア、インド、タイの合計19カ国となった。同社はHKイノエン社を通じて、製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部をロイヤルティとして受領している。東南アジアや中南米の国々でも承認審査が進行中であるほか、ブラジル、中東地域などの国々で承認申請の準備が進められている。

米国における良好な試験結果

2025年4月、HKイノエン社のサブライセンス先の米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（以下 Sebela社）の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）が、米国で実施中の第Ⅲ相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）について良好な試験結果を発表した。TRIUMpH試験は、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流症）を対象とした米国第Ⅲ相臨床試験のピボタル試験として実施された。TRIUMpH試験において、テゴプラザンはEE試験とNERD試験の両方で、全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。これを受けて、Braintree社は2026年1月に新薬承認申請（NDA）を行っており、2027年初頭の承認を見込んでいる。

また、Braintree社は、TRIUMpH試験において最大8週間の初期治療で完全に治癒したEE患者を対象に維持療法の効果を検証し、EE治癒後の維持療法についても良好な試験結果が得られたと発表した。

中国における保険適用

中国市場では、ピロリ菌除去療法が保険適用（NRDL収載）された。現地販売の拡大から同社のロイヤルティ計上までには約半年のタイムラグがあるため、この保険適用による業績への寄与は、2026年下期から本格化する見通しである。

テゴプラザン日本導出と資本業務提携の拡大

2025年12月、同社は、胃酸分泌抑制剤「tegoprazan（テゴプラザン）」の日本における開発・販売にかかるサブライセンス権付き独占の実施権をHKイノエン社に導出するとともに、第三者割当による新株式発行を通じて資本業務提携を拡大すると発表した。第三者割当増資による調達資金は約1,402百万円であり、創薬研究基盤の強化およびパイプライン拡充に向けた研究開発投資に充当するほか、シンジケートローンによる銀行借入金2,750百万円の一部の返済を通じた財務体質の改善にも充てる方針である。

同社は2025年12月期の最重要課題としてテゴプラザンの国内事業化を掲げ、複数の候補先と期中の契約締結に向けた協議を進めてきた。同社によれば、テゴプラザンの国内導出は同社の企業価値の維持・向上に直結する重要事項である。また、開発着手の遅延による市場投入の遅れが事業採算性に影響を及ぼす可能性がある点を踏まえ、開発のタイミングを重視して検討を行ってきた。

これらを踏まえ、HKイノエン社との協力関係をさらに強化することを目的として、提携内容を拡大する判断に至った。日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権の許諾に際して契約一時金の設定はないものの、今後の開発進捗および事業化の状況に応じたマイルストーン収入、販売ロイヤルティ、ならびにHKイノエン社が提携先から受領する収益の一部を受け取る権利を有している。

同社は、HKイノエン社を選定した最大の理由は、「スピード」であるとしている。競合薬であるタケキャブ（一般名：ボノプラザン）について、2030年代初頭に特許切れを迎える可能性がある点を見据え、日本市場において十分な販売期

間を確保するためには、ジェネリック品の参入前に上市することが重要である。このため国内における臨床開発への早期着手を優先し、「年内の契約締結」および「早期の開発開始」を重視した結果、テゴブラザンに関する製品知識および開発ノウハウを有するHKイノエン社へ導出することとした。なお、日本における後期臨床試験に係る開発費用はHKイノエン社が負担する契約となっており、同社は第三者割当増資による資本提携と併せて、開発推進体制の整備を図っている（詳細は「中期事業計画」を参照）。

日本市場における開発体制

日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権はHKイノエン社に許諾された。現在、HKイノエン社が後期臨床試験（フェーズ3試験）の準備を進めるとともに、日本国内の製薬企業との販売提携（サブライセンス）を模索している。同社も提携先候補の紹介など側面支援を行っており、HKイノエン社がサブライセンス先から得る収益の一部を受領するスキームが構築されている。

導出済・導出準備パイプラインの状況

P2X7受容体拮抗薬やTRPM8遮断薬、動物用医薬品5-HT4作動薬などの導出済プログラムについては、導出先およびサブライセンス先の企業において、前臨床試験開発段階以降の取り組みが進められている。

P2X7受容体拮抗薬については、リリー社が開発パイプラインから「Pain（疼痛）」領域を除外したことが確認されている。これに関して同社は、これまでの臨床試験結果を踏まえると、疼痛領域での開発再開は難しいとの認識を示している。一方、ライセンス契約自体は引き続き有効であり、リリー社内において今後の開発方針に関する検討が行われており、開発中止にはなっていない。また、TRPM8遮断薬はXgene社により第1相臨床試験が実施されており、同社は当該試験の進捗を注視している。

導出準備プログラムについては、自社開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験を完了し、提携先の獲得に向けた事業開発活動を行っている。

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て、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。IRAK-M分解誘導薬については、具体的な条件交渉の段階にあることが示唆された。

探索段階のプログラム

探索研究段階では、引き続き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同社は注力している。既存技術と新技術の相乗効果によって創薬バリューチェーンを強化することで、従来の技術では困難とされてきた未開拓の創薬標的（遺伝子・タンパク質など）に対する医薬品を生み出すことを重要な成長戦略とし、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、技術およびパイプラインの強化に取り組んでいる。

2025年5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）と共同で実施中の眼疾患治療薬創製に向けた共同研究について、良好な結果が得られた。この結果をもとに更なる検証を進め、次の段階への協業の可能性を追求する方針である。また、がん治療薬の創出を目標として、mRNAを標的とする低分子医薬品の創出に向けた共同研究を株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下 VIS社）と進めている。当期においては、共同研究で取り扱う標的遺伝子の研究範囲を拡大すると共に、双方のノウハウを活かして複数遺伝子に対するスクリーニングを実施し、開発化合物の創出を目指した創薬研究の起点となり得る低分子化合物を複数取得した。

モダリティおよび創薬標的については、2024年3月に連結子会社としたファイメクス社を中核として、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤の研究開発を進めている。ファイメクス社は、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下 アステラス製薬社）とともに、ファイメクスが保有する、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）を用いて、がんを標的疾患として複数の標的を対象とした標的タンパク質分解誘導剤の探索に取り組んでいる。

ファイメクス社におけるマイルストンの受領とサイエンス主導の新経営体制

2025年3月、ファイメクス社は、アステラス製薬社との共同研究において、特定の1つのプログラムについて、次段階の初期目標を達成し、アステラス製薬社から200百万円の一時金を受領した。また同年11月には、アステラス製薬社との研究において、新たに2つの創薬標的を追加することに合意し、一時金400百万円を受領することとなった。開発候補化合物が同定され、新たな医薬品の製品化に至った場合、ファイメクス社は開発、申請・承認、販売等の進捗に応じたマイル

ストーンとして最大で15,000百万円を上回る金額を受領するとともに、製品の売上高に対して1ケタ台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

2025年12月期において、ファイメクス社は設立8年目にして単年度黒字化を達成した。ファイメクス社の最大の強みは、業界で困難とされている「経口投与可能なTPD（標的タンパク質分解誘導薬）」の創出技術と、独自の「新規E3リガーゼ結合分子」の同定能力にある。これらの技術的優位性はメガファーマなどから高く評価されており、新規提携や交渉力の源泉となっている。

2026年3月より、創業者の一人である蒲CSOが、ファイメクス社の代表取締役CEOに就任する。サイエンスに精通した経営体制への移行により、同社は従来の技術提供中心の位置づけから、自社パイプラインの導出や新規パートナーとの大型提携を見据えた、より戦略的な事業フェーズへと移行する見通しである。

HKイノエン社との資本業務提携

同社は2025年3月21日、HKイノエン社との間で資本業務提携契約を締結し、HKイノエン社に対して第三者割当による新株式を発行した。同社はHKイノエン社に対して、同社普通株式2,592,100株（当該資金調達後の所有議決権比率10.62%）を割り当て、同年4月18日に払い込み手続きが完了した。

この提携は、HKイノエン社からの出資により財務基盤を強化するとともに、両社間での戦略的なパートナーシップの構築を目的としている。当第3四半期累計期間においては、共同研究プロジェクトの開始に向けて、試験データの取得やプロジェクト計画の立案に係る協議など、協業開始に向けた取り組みを進めた（2025年12月における提携内容拡大については「中期事業計画」を参照）。

テムリック株式会社の吸収合併（簡易合併・略式合併）

同社は、コストの削減と管理業務の簡素化および効率化を実現することを目的として、子会社テムリックを消滅会社とする吸収合併を決定した。契約締結日は2025年10月17日、効力発生日は2026年1月1日の予定である。連結グループ内の吸収合併のため、連結業績への影響は軽微である。

2026年12月期通期見通し

| (百万円) | 24年12月期 | | | 25年12月期 | | | 26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 | 通期会予 |
| 事業収益 | 1,411 | 1,697 | 3,108 | 1,536 | 2,444 | 3,980 | 3,980 |
| 前年同期比 | 39.1% | 91.2% | 63.5% | 8.9% | 44.1% | 28.1% | 0.0% |
| 事業費用 | 1,565 | 1,756 | 3,321 | 1,726 | 1,771 | 3,496 | 3,814 |
| 前年同期比 | 50.9% | 46.2% | 48.4% | 10.2% | 0.9% | 5.3% | 9.1% |
| 売上原価 | 227 | 399 | 626 | 389 | 323 | 712 | |
| 前年同期比 | 85.6% | 224.8% | 155.4% | 71.4% | -19.1% | 13.8% | |
| 研究開発費 | 833 | 871 | 1,704 | 782 | 818 | 1,600 | |
| 前年同期比 | 38.0% | 13.3% | 24.1% | -6.1% | -6.2% | -6.1% | |
| 研究開発費比率 | 59.0% | 51.4% | 54.8% | 50.9% | 33.5% | 40.2% | |
| 販売費及び一般管理費 | 506 | 486 | 991 | 554 | 630 | 1,184 | |
| 前年同期比 | 62.1% | 57.1% | 59.6% | 9.6% | 29.8% | 19.5% | |
| 販管費比率 | 35.8% | 28.6% | 31.9% | 36.1% | 25.8% | 29.8% | |
| 営業利益 | -154 | -59 | -213 | -190 | 674 | 484 | 165 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | -65.9% |
| 営業利益率 | - | - | - | - | 27.6% | - | 4.1% |
| 経常利益 | -278 | -84 | -362 | -291 | 729 | 438 | 86 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | -80.4% |
| 経常利益率 | - | - | - | - | 29.8% | - | 2.2% |
| 当期純利益 | -324 | -171 | -495 | -355 | 628 | 273 | -63 |
| 前年同期比 | - | - | - | - | - | - | - |
| 純利益率 | - | - | - | - | 25.7% | - | - |

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。

2026年12月期通期（2026年1月～12月）連結業績予想（2026年2月13日発表）

- 事業収益：3,980百万円（前期比横ばい）
- 営業利益：165百万円（同65.9%減）
- 経常利益：86百万円（同80.4%減）

- 親会社株主に帰属する当期純損失：63百万円（前期は273百万円の利益）
- 1株当たり当期純損失：2.58円（同11.53円の利益）

2026年12月期の事業収益は、テゴプラザンのグローバル展開の拡大によるロイヤルティ収入の順調な増加を想定し、子会社を含め契約一時金やマイルストーン、研究協力金収入の獲得を予定している。同社単体の事業収益は2,969百万円（同2.2%増）、子会社ファイメクス社の事業収益は1,011百万円（同6.0%減）を見込んでいる。一方、事業費用は、3,814百万円（同9.1%増）を予想する。

事業収益が横ばいにとどまる理由は、ロイヤルティ収入の継続成長を見込む一方で、不確実性の高いマイルストーン・契約一時金を極めて保守的に見積もっているためである。また、前期から期ずれした研究開発費が計上されることもあり、営業減益・最終赤字を見込んでいる。ただし、同社は当期純利益の赤字転落をネガティブにはとらえておらず、のれん償却費などを除外した実質的なキャッシュ創出力であるEBITDAの黒字維持を重視している。収益の進捗に応じて研究開発費の優先順位を見直すなど、機動的なコストコントロールを行う方針である。テゴプラザンの日本権利導出、子会社ファイメクス社の黒字化および経営体制の刷新など、中長期的な成長に向けて着実に進展している。

HKイノエン社を割当先とする第三者割当増資により約1,400百万円を調達し、2025年12月期の自己資本比率は65.1%（前期比7.7%ポイント上昇）へと改善した。2028年12月期までの新中期経営計画において利用可能な資金は、手元資金や新株予約権などを含み約19,000百万円規模となる見込みである。同社はこれらの資金を探索研究への投資に加え、M&Aや新規モダリティの獲得などの戦略投資へ機動的に振り向ける方針である。

主なカタリスト

| | 想定適応症 | 国・地域 | 研究開発段階 | 2026年 | 2027年～2028年 | 導出先・提携先 |
|-------------|----------|------|--------|----------------------|-------------|--------------------------------|
| テゴプラザン | 胃食道逆流症など | 米国 | フェーズ3 | 承認審査 | 承認取得・製品発売 | HIイノエン社 Sebelia社/Braintree社 |
| | | 日本 | フェーズ1 | 後期臨床試験の実施 | | HKイノエン社 |
| | | 欧州 | 前臨床 | 導出契約締結 | 後期臨床試験の実施 | HKイノエン社 提携先企業 |
| TPRM8遮断薬 | 慢性疼痛 | 全世界 | フェーズ1 | 臨床試験の進展（フェーズ1→フェーズ2） | | Xgene社 |
| グレリン受容体作動薬 | 便秘・悪液質 | 全世界 | 前臨床 | 導出 | 臨床試験の実施 | 提携先企業 |
| IRAK-M分解誘導薬 | がん（がん免疫） | 全世界 | 前臨床 | 臨床開発準備・導出 | 臨床試験の実施 | 提携先企業 |
| 既存共同研究プログラム | がん | 全世界 | 研究 | 共同研究の進展（マイルストーン） | | アステラス製薬社 HKイノエン社 |
| 新規共同研究プログラム | 未定 | 全世界 | 研究 | 新規契約獲得 | 新規契約獲得 | 提携先企業 |
| P2X7受容体拮抗薬 | 未定 | 全世界 | 非開示 | 開発計画の再検討 & 開発再開 | | 旭化成ファーマ社 Lilly社 |

出所：会社資料よりSR社作成

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) | 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 | 24年12月期 | 25年12月期 |
|--------------------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|
| 事業収益（期初予想） | 950 | 1,100 | 1,388 | 2,022 | 2,129 | 2,738 | 2,605 | 2,799 | 4,535 | 3,888 |
| 事業収益（実績） | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 3,108 | 3,980 |
| 期初会予と実績の差異 | -25.8% | 29.0% | -46.4% | -15.8% | -48.0% | 1.4% | 12.0% | -32.1% | -31.5% | 2.4% |
| 営業利益（期初予想） | -819 | -760 | -698 | 187 | 70 | 420 | 420 | 260 | 313 | 118 |
| 営業利益（実績） | -760 | -150 | -1,075 | -16 | -486 | 708 | 866 | -337 | -213 | 484 |
| 期初会予と実績の差異 | - | - | - | - | - | 68.5% | 106.2% | - | -168.2% | 309.9% |
| 経常利益（期初予想） | -819 | -761 | -680 | 195 | 85 | 427 | 420 | 242 | 290 | 73 |
| 経常利益（実績） | -721 | -81 | -1,065 | 22 | -528 | 864 | 904 | -293 | -362 | 438 |
| 期初会予と実績の差異 | - | - | - | -88.9% | - | 102.3% | 115.3% | - | -224.7% | 499.9% |
| 当期純利益（期初予想） | -825 | -767 | -686 | 153 | 13 | 343 | 342 | 183 | 236 | -71 |
| 当期純利益（実績） | -728 | -58 | -1,105 | 5 | -607 | 756 | 723 | -324 | -495 | 273 |
| 期初会予と実績の差異 | - | - | - | -96.5% | - | 120.3% | 111.5% | - | -309.8% | - |

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。

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。

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。

2023年12月期は、期中の契約締結を目指して交渉中であったテゴプラザンの日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約と、猫の体重減少管理の適応を持つELURA™の欧州における承認・発売のマイルストンの達成が2024年12月期にずれ込むことになったため、2023年12月8日付で下方修正を行った。期ずれによる影響額は、マイナス900百万円。

2024年12月期の業績予想は、2024年12月に下方修正された。胃酸分泌抑制剤テゴプラザンの日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約の締結は翌年度にずれ込み、また子会社においては、ファイメクス社での新たな共同研究契約やテムリック社でのライセンス交渉が進展しなかったため。HKイノエン社やエランコ社のペット用医薬品からのロイヤルティ収入は好調に推移し、導出先企業の開発進捗に伴うマイルストーン収入や研究協力金、動物用医薬品のオプション行使料などにより、その他の収益が増加した。

2025年12月期実績は、契約一時金およびマイルストーン収入などその他の収入が期初計画を207百万円下回ったものの、テゴプラザンおよびペット用医薬品に係る販売ロイヤルティ収入が好調に推移した。その他収益（契約一時金・マイルストーン・研究一時金を含む）も前期比49.4%増加して、テゴプラザンの契約一時金がなかったことから期初予想は下回ったものの、事業収益は過去最高を更新した。委託試験の期ずれなどにより研究開発費は期初計画を下回り、費用管理の徹底により事業費用が圧縮された結果、各段階利益は黒字に転換した。

中期事業計画

ローリング方式による目標の見直し

同社はローリング方式にて2026年12月期から2028年12月期までの3年間の中期経営計画を新たに策定し、2025年12月期決算発表と同時に公表した。

具体的な数値目標は、2026年12月期：事業収益3,980百万円（前期比横ばい）、営業利益165百万円（同65.9%減）、2027年12月期：事業収益4,152百万円（同4.3%増）、営業利益279百万円（同69.1%増）、2028年12月期：事業収益4,686百万円（同12.9%増）、営業利益909百万円（同225.8%増）である。3年間の事業収益の年平均成長率（CAGR）は5.6%、EBITDAのCAGRは13.9%を見込んでいる。想定為替レートは、3期ともに1米ドル150円としている。今後も経営環境の変化に柔軟に対応するため、原則として毎期改定を行うローリング方式にて中期経営計画を策定する方針である。

2028年12月期までの数値目標

| | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 25年12月期 | 26年12月期 | 27年12月期 | 28年12月期 | 3年間 |
|--------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|-------|
| (百万円) | 実績 | 実績 | 実績 | 実績 | 実績 | 計画 | 目標 | 目標 | CAGR |
| 事業収益 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 3,108 | 3,980 | 3,980 | 4,152 | 4,686 | |
| 前年比 | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 63.5% | 28.1% | 0.0% | 4.3% | 12.9% | 5.6% |
| 事業費用 | 2,068 | 2,052 | 2,538 | 3,321 | 3,496 | 3,814 | 3,872 | 3,777 | |
| 前年比 | 29.8% | -0.8% | 23.7% | 30.9% | 5.3% | 9.1% | 1.5% | -2.5% | 2.6% |
| 事業費比率 | 74.5% | 70.3% | 133.5% | 106.9% | 87.8% | 95.8% | 93.3% | 80.6% | |
| 営業利益 | 708 | 866 | -337 | -213 | 484 | 165 | 279 | 909 | |
| 前年比 | - | 22.4% | - | - | - | -65.9% | 69.1% | 225.8% | - |
| 営業利益率 | 25.5% | 29.7% | - | - | 12.2% | 4.1% | 6.7% | 19.4% | |
| 経常利益 | 864 | 904 | -293 | -362 | 438 | 86 | 212 | 864 | |
| 前年比 | - | 4.7% | - | - | - | -80.4% | 146.5% | 307.5% | - |
| 経常利益率 | 31.1% | 31.0% | - | - | 11.0% | 2.2% | 5.1% | 18.4% | |
| 当期純利益 | 756 | 723 | -324 | -495 | 273 | -63 | 54 | 676 | |
| 前年比 | - | -4.3% | - | - | - | - | - | - | - |
| 当期純利益率 | 27.2% | 24.8% | - | - | 6.9% | - | 1.3% | 14.4% | |
| EBITDA | 849 | 1,013 | 464 | 185 | 965 | 685 | 824 | 1,426 | |
| 前年比 | - | 19.3% | -54.2% | -60.1% | 421.6% | -29.0% | 20.3% | 73.1% | 13.9% |

出所：会社資料よりSR社作成

前中期経営計画の達成状況

2025年12月期から2027年12月期までの前中期経営計画について、2025年12月期末時点の進捗は良好であると同社は認識している。2025年12月期の業績は、過去最高の売上収益を達成して黒字に転換しており、テゴプラザン関連のロイヤルティが安定的な収益基盤として確立したことを強く印象付けた。

研究は、開発化合物創出の取り組みを継続中であり、ファイメクス社のグループ内への取り込みも進んでいる。開発は、グレリン受容体作動薬の開発方針を変更して臨床試験前の提携を目指しており、ファイメクス社のIRAK-M分解誘導薬についても、導出活動を行っている。

2024年12月期には動物薬に関するオプション契約の締結を行ったが、「テゴプラザン（日本）を含む導出準備プログラムから毎年1件のライセンス契約を導出し、ファイメクス社のプラットフォーム事業において毎年1件の共同研究契約を締結する」という目標は、達成できなかった。同社はテゴプラザン（日本）の導出とファイメクス社における新規契約を2025年12月期の必達目標に設定していたが、テゴプラザン（日本）についてはHKイノエン社に導出し、ファイメクス社においてはアステラス製薬社との契約が拡大した。

旧中期経営計画の2027年12月期までの目標と達成状況

| | | 2025年12月期の達成状況 |
|----|--|--------------------------------|
| 収益 | 2025年12月期から2027年12月期の3期連続営業黒字 2027年12月期までの3期累計の事業収益：11,100百万円 | 営業黒字化を達成 事業収益3,980百万円 |
| 研究 | 2027年12月期までに開発候補化合物2個を創出 ラクオリア／ファイメクスの協働体制による成果（プラットフォーム／パイプライン） | 取り組み進行中 |
| 開発 | グレリン受容体作動薬／IRAK-M分解誘導薬の導出＆導出先での臨床試験開始 新たな開発プログラムの前臨床試験開始 | 取り組み進行中 |
| 契約 | 導出準備プログラムから毎年1件のライセンス契約（テゴプラザン（日本）を含む） ファイメクスのプラットフォーム事業において毎年1件の共同研究契約 | テゴプラザン（日本）導出達成 アステラス製薬の契約拡大 |

出所：会社資料よりSR社作成

新中期経営計画の2028年12月期までの目標

| | |
|----|---|
| 収益 | <ul style="list-style-type: none">2026年12月期から2028年12月期の3期連続営業黒字2028年12月までの3期累計の事業収益12,800百万円 |
| 研究 | <ul style="list-style-type: none">2028年12月期までに開発候補化合物3個を創出ラクオリア／ファイメクスの協働体制による成果（プラットフォーム／パイプライン）HKイノエン社との共同研究による成果（パイプライン） |
| 開発 | <ul style="list-style-type: none">グレリン受容体作動薬／IRAK-M分解誘導薬の導出と導出先での臨床試験開始新たな開発プログラムの前臨床試験開始 |
| 導出 | <ul style="list-style-type: none">導出準備プログラムから毎年1件のライセンス契約ファイメクスのプラットフォーム事業において、毎年1件の共同研究契約 |

出所：会社資料よりSR社作成

新中期経営計画の目標

事業収益計画の内訳：3期累計12,818百万円

2026年12月期

同社は、テゴプラザンのグローバル展開の拡大による、ロイヤルティ収入の順調な増加を見込んでいる。子会社ファイメクス社を含めた新たな契約にかかる契約一時金、マイルストーンおよび研究協力金収入の獲得を予定しており、事業収益合計3,980百万円（前期比横ばい）を見込んでいる。同社単体の事業収益は2,969百万円（同2.2%増）、子会社ファイメクス社の事業収益は1,011百万円（同6.0%減）を予想する。

2027年12月期

同社は、テゴプラザンの販売地域拡大によるロイヤルティ収入の増加を期待している。子会社を含め契約一時金、マイルストーンおよび研究協力金収入の獲得を予定しているが、新規契約の一時金およびマイルストーンは前年度を下回ると想定し、事業収益合計4,152百万円（前期比4.3%増）を見込んでいる。同社単体の事業収益は2,873百万円（同3.2%減）、子会社ファイメクス社の事業収益は1,279百万円（同26.5%増）を予想する。

2028年12月期

2026年12月期に続き、テゴプラザンの販売地域拡大によるロイヤルティ収入の増加に期待している。子会社を含め契約一時金、マイルストーンおよび研究協力金収入の獲得を予定しているが、新規契約の一時金およびマイルストーンについては、前年度と同様に保守的な想定を維持し、事業収益合計4,686百万円（同12.9%増）を見込んでいる。同社単体の事業収益は3,228百万円（同12.4%増）、子会社ファイメクス社の事業収益は1,458百万円（同14.0%増）を予想する。

資金の状況と配分

| 資金の状況 | 企業価値最大化に向けた投資 | 株主還元 |
|-----------------------------------|--|-------------------------|
| 2026年から2028年の事業収益見通し 12,800百万円 | 探索研究投資（既存領域の拡充） 3年間で7,200百万円（人件費含む） | 株主配当金 財務基盤強化に応じて実施予定 |
| 手元資金（2025年12月期末） 3,800百万円 | 前臨床・臨床開発投資（プロジェクトの価値向上） 3年間で300百万円（人件費含む） | 自己株式の取得 機動的に検討 |
| 借入余力（コミットメントライン） 500百万円 | 設備投資 （既存設備の拡充・AI/DX投資など） | |
| HKイノエン社からの払込 1,400百万円 | 戦略投資 （創薬技術・パイプラインの獲得など） | |
| エクイティ調達（新株予約権） 490百万円 | | |

出所：会社資料よりSR社作成

成長戦略：アンドラッグブルをドラッグブルへ

同社は、創薬ベンチャーとして企業価値を最大化するため、いまだ有効な治療法が存在しない「アンメット・メディカルニーズ」の高い疾患領域において、画期的な新薬候補を連続的に創出し、ポートフォリオを強化する方針を掲げている。

新薬開発の成否を分ける最大の壁が「ドラッグビリティ（創薬可能性）」である。ヒトの遺伝子約25,000のうち、疾患に関連する遺伝子は約3,000存在すると言われているが、従来の低分子化合物や抗体などで機能調節が可能な「ドラッグブル」な標的は約500にとどまっている。同社は、これまで医薬品の創出が極めて困難とされてきた残る多数の「アンドラッグブル（創薬困難）」な標的（疾患関連遺伝子やタンパク質）に対し、同社が培ってきた高度な低分子創薬基盤と、子会社ファイメクスが有するTPD（標的タンパク質分解誘導剤）、mRNA標的低分子、細胞内抗体（intrabody）などの新規モダリティを駆使することで、未開拓の創薬領域を切り拓いていく戦略を描いている。

新規医薬品候補物質のパイプラインの充実およびその基盤となる創薬研究機能の強化のため、以下の重点4施策を推進する。

- 提携関係の強化：HKイノエン社との資本業務提携（テゴプラザンの事業化の加速、共同研究の実施、財務基盤強化）
- 創薬研究基盤の強化：実績ある低分子創薬を柱にモダリティの拡張への投資拡大
- 研究開発ポートフォリオの拡充：中期経営期間においては新たな開発候補品の創出に注力
- ビジネスモデルの強化：ロイヤルティ収益の成長に加え、研究段階で収益を上げるハイブリッド型ビジネスモデル

企業価値・株主価値向上のための重点4施策

| | |
|----------------|-----------------------|
| 提携関係の強化 | PER：成長性の向上・ROE：収益性の向上 |
| 創薬研究基盤の強化 | PER：成長性の向上 |
| 研究開発ポートフォリオの拡充 | PER：成長性の向上 |
| ビジネスモデルの強化 | PER：成長性の向上・ROE：収益性の向上 |

出所：会社資料よりSR社作成

オープンイノベーションによる創薬バリューチェーンの確立

同社は、開発パイプラインの継続的な創出には基盤技術と創薬技術の有機的な連結が必要と考えており、スタートアップ・創薬ベンチャー・アカデミアとの積極的な連携により課題解決を図る方針である。社内で保有する技術の組み合わせによる開発パイプラインの創出は、資金と人材の供給が十分であれば可能であるものの、既存技術や枠組みにとらわれるリスクがある。複数の企業やアカデミアによるオープンイノベーションの場合、信頼関係と権利関係が重要となるものの、自社で保有していない技術の応用が可能である。同社は既存技術とスタートアップや創薬ベンチャーとの連携強化の取組みによるシナジーで、次世代の自社創薬バリューチェーンの確立を目指す（詳細は事業内容の項を参照）。

- 創業標的の拡張に向けた取り組み：株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下 VIS社）との共同研究
- モダリティ拡張に向けた取り組み：STAND Therapeutics株式会社との共同研究
- パイプラインの価値最大化に向けた取り組み：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

HKイノエン社との資本業務提携契約の締結

同社は2025年3月21日、HKイノエン社との間で資本業務提携契約を締結し、HKイノエン社に対して第三者割当による新株式を発行した。同社はHKイノエン社に対して、同社普通株式2,592,100株（当該資金調達後の所有議決権比率10.62%）を割り当て、同年4月18日に払い込み手続きが完了した。

この提携は、HKイノエン社からの出資により財務基盤を強化するとともに、両社間での戦略的なパートナーシップの構築を目的としている。研究開発をはじめとする多岐にわたる分野で相乗効果を創出し、企業価値の最大化を目指す。調達資金は、同社の成長戦略の重要な柱である研究開発投資および設備投資に重点的に充当する予定で、具体的な資金使途は以下の通りである。

- 探索研究段階に係る継続的な開発化合物の創出のための研究開発費（共同研究や外部委託等の外部との連携を含む）
- グレリン受容体作動薬等、前臨床試験段階以降にある既存化合物の価値向上のための研究開発費（原薬製造、前臨床試験、臨床試験等を含む）
- 設備投資のための投資資金

テゴプラザンの日本における導出を伴うHKイノエン社との資本業務提携の拡大

同社は2025年12月、胃酸分泌抑制剤「テゴプラザン」の日本における開発・販売にかかるサブライセンス権付き独占の実施権をHKイノエン社に導出するとともに、第三者割当による新株式発行を通じて資本業務提携を強化すると発表した。当該第三者割当により、HKイノエン社は同社の発行済株式数の約16.0%を保有することとなり、引き続き筆頭株主としての地位を維持する。

同社は2025年12月期の最重要課題としてテゴプラザンの国内事業化を掲げ、複数の候補先と期中の契約締結に向けた協議を進めてきた。同社によれば、テゴプラザンの国内導出は同社の企業価値の維持・向上に直結する重要事項である。また、開発着手の遅延による市場投入の遅れが事業採算性に影響を及ぼす可能性がある点を踏まえ、開発のタイミングを重視して検討を行ってきた。

2025年3月の提携契約締結以降、同社とHKイノエン社は将来の事業協力や共同研究の可能性について協議を重ねてきた。その結果、テゴプラザンの日本国内での事業化およびテゴプラザンに次ぐ画期的な医薬品の継続的な創出を両社共通の目標とする点で認識が一致し、協力関係をさらに強化する目的で提携内容を拡大することとした。

提携拡大の内容は、テゴプラザンを有効成分とするヒト用医薬品の商業化を目的として、日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権をHKイノエン社に許諾し、HKイノエン社が後期臨床試験の実施に向けた取り組みを進める点にある。日本を対象とした権利導出に際して契約一時金の設定はないものの、同社は今後の事業化の進展に応じたマイルストーン収入、販売ロイヤルティ、ならびにHKイノエン社が提携先から受領する収益の一部を同社が受け取る権利を有する。なお、HKイノエン社は日本国内に販売網を有していないが、日本の製薬企業へのサブライセンスが行われる可能性があるとしている。

同社がHKイノエン社を選定した最大の理由は、「スピード」である。競合薬であるタケキャブ（一般名：ボノプラザン）が2030年代初頭に特許切れを迎える可能性がある点を踏まえ、日本市場において十分な販売期間を確保し、市場シェアを確立するには、ジェネリック品の参入前の上市が重要であると説明している。このため、国内での臨床開発への早期着手を優先し、「年内の契約締結」および「早期の開発開始」を重視した結果、テゴプラザンに関する製品知識および開発ノウハウを有するHKイノエン社へ導出することとした。なお、日本における後期臨床試験に係る開発費用は、HKイノエン社が負担する契約内容となっている。

業務提携の内容

同社はライセンス契約変更契約に基づき、テゴプラザンについて日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権をHKイノエン社に許諾する。以下の内容に加えて、両社の更なる企業価値向上に資する施策の検討および協議を進める。

- HKイノエン社に対する、日本におけるテゴプラザンの独占的な開発・製造・販売権の許諾
- 同社が保有する開発化合物の価値向上に関する協力
- 共同研究の実施
- その他の研究開発に関する協力

新株式発行の概要

| | |
|-------------------|-------------------------------------|
| 発行新株式数 | 普通株式 1,555,900株 |
| 発行価額 | 1株当たり907円 |
| 払込期日 | 2026年1月29日 |
| 調達資金の額 | 1,411,201,300円 |
| 払込金額の総額 | 1,411百万円 |
| 発行諸費用の概算額 | 9百万円 |
| 差引手取概算額 | 1,402百万円 |
| 募集又は割当方法 | 第三者割当の方法による |
| 割当予定先 | HK inno.N Corporation |
| 増加する資本金および資本準備金の額 | 資本金：705,600,650円、資本準備金：705,600,650円 |

出所：会社資料よりSR社作成

第三者割当により調達した資金の使途

第三者割当増資による手取り概算額は1,402百万円となり、このうち842百万円は研究開発費に充当する予定としている。これは、前回の資本業務提携と同様の資金使途であるが、今回はHKイノエン社との共同研究と関連した投資として実行される。残りの559百万円については、シンジケートローンによる銀行借入金2,750百万円の返済資金の一部に充当する予定としている。

- 1) 創薬研究基盤の強化（284百万円）：標的タンパク質分解誘導剤（TPD）、mRNA標的低分子をはじめとする新規モダリティとそれに関連した基盤技術に関連した研究開発投資
- 2) 開発パイプラインの拡充（267百万円）：HKイノエン社との共同研究を通じて新たな開発パイプラインを創出するための試験研究に係る研究開発投資（消耗品の購入、各種試験の実験などにかかる費用）
- 3) 試験研究用の実験研究機器などの設備強化（291百万円）：探索研究活動の業務効率化や成功確率を高めるための設備投資
- 4) シンジケートローン返済（559百万円）

資金使途および支出予定時期

| 具体的な使途 | 金額（百万円） | 支出予定時期 | |
|--|---------|------------------|---|
| 創薬研究基盤の強化 （割当予定先との共同研究プロジェクトの推進に寄与する技術基盤） | 284 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度80百万円 2027年度80百万円 2028年度124百万円 |
| 開発パイプラインの拡充に向けた取り組み （割当予定先との共同研究を通じた新たな開発パイプラインの創出） | 267 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度118百万円 2027年度90百万円 2028年度58百万円 |
| 試験研究用の実験研究機器等の設備強化 （割当予定先との共同研究プロジェクトの推進に寄与する実験研究機器の購入） | 291 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度70百万円 2027年度101百万円 2028年度120百万円 |
| シンジケートローン返済 | 559 | 2026年3月～2027年3月 | 2026年度500百万円 2027年度59百万円 |
| 合計 | 1,402 | | |

出所：会社資料よりSR社作成

また、今回の資本業務提携の拡大に際して、HKイノエン社、柿沼佑一氏および同社は、株主間契約変更契約を締結し、主に以下の事項に合意した。

- 取締役・オブザーバーの派遣：HKイノエン社は2026年3月以降、取締役候補者2名を指名。取締役就任までおよび欠員時に取締役会にオブザーバー1名が出席
- 優先引受権の設定：HKイノエン社は株式などの発行（公募増資、株式分割、役職員へのストックオプションなどを除く）の際、保有割合に応じて、新たに発行される株式などを優先的に引き受けることができる
- 契約の効力発生・終了条件：払込完了後に効力が発生し、HKイノエン社または柿沼氏の保有株式が発行済株式数の5%未満となった場合、自動的に終了

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」となるシーズを創製し、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。2023年の医薬品売上高世界3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、2025年12月期末時点では同社の株式の3.04%をファイザー社が保有する。

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。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®（ジプラシドン）、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である。当時開発中であったテゴプラザン、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。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（テゴプラザン）、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「テゴプラザン」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。

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) 臨床試験の開始や承認申請など、あらかじめ定めた開発段階に到達した際に得られる「開発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。製品発売後にはロイヤルティ収入のほか、製品の売上高があらかじめ定めた額に達した際に得られる「販売マイルストーン収入」もある。

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同社の主要な財源である。2025年12月期の事業収益3,980百万円（前期比28.1%増）のうち56.3%をロイヤルティ収入、43.6%を契約一時金やマイルストーン収入、研究協力金などが占める。

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 |
| 開発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、相対的に短中期的に得られる収入 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 |
| 販売マイルストーン収入 | 製品販売後、製品の売上高があらかじめ定めた額に達した際に得られる収入 |
| ロイヤルティ収入 | 製品販売後、製品の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 同社の創業技術に対する対価 |

出所：会社資料よりSR社作成

地域別売上高推移

| | 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 | 24年12月期 | 25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 | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 3,108 | 3,980 |
| 前年比 | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.6% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 63.5% | 28.1% |
| 米国 | 646 | 818 | 278 | 761 | 549 | 1,004 | 1,142 | 1,091 | 1,129 | 861 |
| 前年比 | - | 26.5% | -66.0% | 173.8% | -27.8% | 82.7% | 13.8% | -4.5% | 3.5% | -23.7% |
| 構成比 | 91.6% | 57.6% | 37.3% | 44.7% | 49.6% | 36.2% | 39.1% | 57.4% | 36.3% | 21.6% |
| 日本 | 50 | 471 | 349 | 196 | 28 | 1,187 | 742 | 6 | 711 | 1,067 |
| 前年比 | -52.6% | 841.1% | -25.8% | -43.7% | -85.9% | 4175.6% | -37.5% | -99.2% | - | 50.2% |
| 構成比 | 7.1% | 33.2% | 46.8% | 11.5% | 2.5% | 42.8% | 25.4% | 0.3% | 22.9% | 26.8% |
| アジア | 9 | 131 | 121 | 746 | 530 | 585 | 1,034 | 801 | 1,256 | 2,051 |
| 前年比 | -77.5% | 1355.0% | -7.8% | 517.9% | -28.9% | 10.3% | 76.8% | -22.6% | 56.8% | 63.4% |
| 構成比 | 1.3% | 9.2% | 16.2% | 43.8% | 47.9% | 21.1% | 35.4% | 42.1% | 40.4% | 51.5% |
| 欧州 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 構成比 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| その他 | - | - | - | - | - | - | - | 4 | 12 | - |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | 249.5% | - |
| 構成比 | - | - | - | - | - | - | - | 0.2% | 0.4% | - |

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

既存契約の潜在収益

同社がこれまでに契約したプログラムにより、マイルストーンやロイヤルティの潜在収益は、2025年12月期末時点で80,000百万円以上に上る。開発マイルストーンについては、最大総額20,000百万円のうち、2025年12月期末までに5,300百万円を取得済である。販売の進捗に応じて得られる販売マイルストーンは最大総額60,000百万円以上で、まだ取得していない。また、販売の進捗に応じて得られるロイヤルティは上限はなく、2025年12月期末までに10,500百万円を取得済である。

同社の事業領域

探索研究から前期臨床開発までが同社の創薬ステージ

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薬企業である。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、同社が行う創薬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12月期から、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。また、2024年12月期からはがん領域にも注力している。

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。

同社は従来、非臨床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2021年12月期から、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。同社は、臨床試験を行う場合に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方針である。

2024年12月期にはファイメクス社の子会社化に伴い、ハイブリッド型の創薬企業を志向しており、探索段階など基礎研究の時点で早期に導出することも視野に入れている。また、グレルン受容体作動薬についても臨床試験開始前の提携を目指す方向に方針を転換しており、当面は臨床試験を実施する計画はない。

アンドラッグブルをドラッグブルへ

ヒトゲノムには、約25,000個の遺伝子が存在することが分かっており、そのうち疾患に関連した遺伝子は約3,000個である。現在の創薬標的（ドラッグブル）な疾患関連遺伝子は約500個である。今後はアンメットメディカルニーズが高い神経・がんを重点領域として、医薬品の創出が困難とされてきた疾患関連遺伝子を創薬バリューチェーンの強化によって開拓し、画期的な新薬を創出する方針である。

* ドラッグブルとは、化合物・抗体などの物質により受容体などの標的の分子の機能を調節できる可能性が高いことを意味し、ドラッグブルかそうでないかによって新薬候補を生み出せるかどうかが大きく左右される。

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「探索研究」、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、有効性と安全性を確認するとともに、有効かつ安全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社の事業領域

| 研究 | プロセス | 期間 | 内容 | 同社の事業領域 |
|----|-----------------|----------|------------------------|---------|
| | 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 | ○ |
| 開発 | 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 | ○ |
| | 第Ⅱ相（フェーズ2） | | | |
| | 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 | 24 |

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）

低分子医薬の開発に強み

同社は主に低分子化合物に係る研究開発を行っており、2022年12月期時点の同社のパイプラインは、すべて低分子化合物による開発品であった。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

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（テゴプラザン）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をさらに発展させ、同社は週に100~150化合物を合成して実験を行う体制を確立している。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はそのうち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。

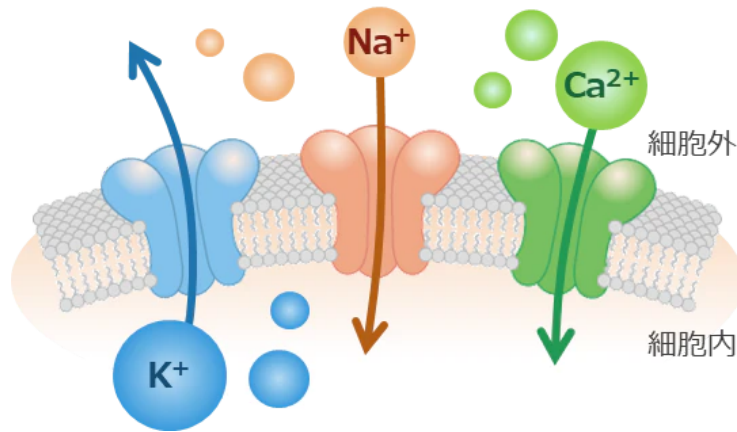
イオンチャネル創薬

同社は、イオンチャ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、ナトリウムチャネル、カルシウムチャネル、カリウムチャネル、塩素イオンチャネルなど、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、標的とするイオンチャネル以外に別の場所のイオンチャネルも遮断してしまうと想定外の影響が出てしまうため、選択的な遮断を行わないと副作用が強くなる。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。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ンネル遮断薬 | 非開示 | 鎮痛・鎮痒 | マルホ社 | 2017年導出 非開示 |
| 特定のイオンチャンネル | 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 香港Xgene社がP1実施中 |
| ナトリウムチャンネル遮断薬 | RQ-00350215 | 慢性疼痛 | 久光製薬社 | 2021年導出 非開示 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年12月現在）

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ンネル遮断薬は、ともにイオンチャン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、イオンチャン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。

特許期間のマネジメント

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

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、生体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）。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について触れている。同社の強みは低分子創薬であるが、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として、クライオ電子顕微鏡を用いたタンパク質構造解析や、インフォマティクス創薬などの取り組みを行っている。

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だすことができ、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）による疾患アプローチ

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標的の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（東証GRT 130A、以下VIS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。VIS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。

スタートアップ・創薬ベンチャーの保有技術と共同研究内容

| | 保有技術 | 開始時期 | 共同研究内容 |
|--------------------|---|----------|---|
| 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 | 2022年5月 | 同社化合物の難病・希少疾患への適応可能性の探索研究 |
| 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 | 2022年8月 | 難病・希少疾患治療薬の創製を目指した細胞内抗体技術（STAND技術）の創薬応用の可能性検証 |
| Veritas In Silico社 | メッセンジャーRNA（mRNA）上で標的部分構造を見出すインフォマティクス技術 | 2022年12月 | mRNAを標的とした低分子医薬品の創出 |
| 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®） | 2022年12月 | 眼疾患治療薬創製 |
| leadXpro社 | クライオ電子顕微鏡などを用いた膜タンパク質の構造解析技術 | 2022年12月 | 膜タンパク質の3次元立体構造解析 |

出所：会社資料よりSR社作成

ビジネスモデルの変革

ハイブリッド型のビジネスモデルへ

企業価値・株主価値向上のためM&Aを実施

2024年2月、同社はテゴブラザンとペット用医薬品に続く新たな収益源を生み出す必要があるとして、ファイメクス株式会社（非上場、以下ファイメクス社）の全株式を取得し、子会社化する、と発表した。ファイメクス社は、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤（TPD）を用いて、新規医薬品の研究開発を行っている。また、独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™を中核として、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下アステラス製薬社）と共同研究を行い、開発の進捗に応じたマイルストーンや上市後のロイヤルティを受領する可能性がある。同社はファイメクス社の子会社化により、プラットフォーム技術の獲得による創薬バリューチェーンの強化、ビジネスモデルのハイブリッド化による収益の増加、がん領域の強化と拡充などを期待する。

M&Aにより期待されるシナジー

| | |
|----------|--|
| 経営資源 | <ul style="list-style-type: none"> パイプラインの獲得 優秀人材の獲得 新たな企業文化やイノベーションエンジン |
| 成長可能性の拡大 | <ul style="list-style-type: none"> 創薬バリューチェーンの強化 新たなモダリティの獲得 がん領域へのさらなる進出 |
| 収益性の拡大 | <ul style="list-style-type: none"> 収益機会の増加 プラットフォーム型ビジネスへの拡充 |

出所：会社資料よりSR社作成

未開拓の創薬標的への挑戦

既存の低分子薬は創薬標的である疾患関連のタンパク質に結合し、その機能を阻害することで病気を治すが、結合できない構造のタンパク質については、アンドラッグブル（創薬不可能）とされてきた。近年、新規モダリティやインフォマティクス・AIの創薬応用などの新技術により、これまでアンドラッグブルとされてきた疾患関連のタンパク質について、新薬候補を生み出す可能性が出てきている。

2018年創業のファイメクス社は、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤（TPD）を用いて、新規医薬品の研究開発を進める創薬ベンチャー企業である。TPDとは、アンドラッグブルな標的タンパク質を直接分解して除去

することで、効果を発揮する。体内には不要なタンパク質を分解・除去して代謝をする働きがあるが、TPDは分解の目印となるユビキチンを付加する酵素（E3リガーゼ）を、標的タンパク質に近づけることで分解を促す。

ファイメクス社は、独自のE3リガーゼ結合分子と創薬基盤技術「RaPPIDS™」を基に、従来治療薬の創製がきわめて困難（アンドラッグブル）とされてきた標的に対する革新的な医薬品の創出を目指している。ファイメクス社は同社独自のタンパク質分解誘導剤探索プラットフォーム「RaPPIDS™」を改良・進化させることにより、600種以上知られているE3リガーゼの中から、標的ごとに最適なE3リガーゼを特定し、新規のE3リガーゼバインダー（結合剤）を取得する技術を確立している。

早期から収益を確保できるプラットフォーム型

同社のビジネスモデルが付加価値の高い新薬候補物質を創出して自社で前臨床試験や臨床開発を行い、導出して比較的高額な契約一時金やマイルストーンに加えて、製品の上市後に売上に応じた一定料率のロイヤルティを得るという「パイプライン型」である。これに対して、ファイメクス社のビジネスモデルは「プラットフォーム型」である。

プラットフォーム型のビジネスモデルは、創薬基盤技術（プラットフォーム技術）により創薬シーズの探索段階から技術供与を行い、早期に導出して契約一時金と研究協力金を獲得する。前臨床試験以降は主として導出先が開発を実施し、その進捗に応じたマイルストーンに加えて、上市後は売上に応じた一定料率のロイヤルティを得られる。プラットフォーム型はパイプライン型よりも自社で開発リスクを負わない分、契約一時金やマイルストーン、ロイヤルティの額は比較的小さくなるものの、早期から安定した収益を得られる。同社はファイメクス社の連結子会社化により、2つのビジネスモデルを組み合わせた「ハイブリッド型」の企業を志向している。

2022年、ファイメクス社はアステラス製薬社と複数の標的に対する共同研究に関する契約を締結した。当該共同研究契約に基づき、ファイメクス社は契約一時金500百万円および研究資金を受領した。医薬品候補物質の特定後はアステラス製薬社により開発が行われることとなり、ファイメクス社は標的プログラムごとに開発の進捗に応じたマイルストーンを受領するとともに、製品化後は売上高に応じた販売マイルストーンと1ヶ台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。2025年12月期におけるファイメクス社の事業収益は、契約一時金・マイルストーンが600百万円、研究協力金が452百万円であった。

また、ファイメクス社は主要な自社パイプラインとして、がん疾患に関連するタンパク質を標的とする複数のファーストインクラスの新薬開発プログラムを進めている。最も研究開発が進んでいるIRAK-Mプログラム（化合物コード：FIM-001）は、免疫抑制解除を作用機序とした新たながん免疫療法の開発を目指して、現在前臨床段階にある。

ファイメクス社のパイプライン

| 標的 | 対象疾患 | 研究段階 | パートナー |
|--------|----------------|-------|----------|
| IRAK-M | 非小細胞肺癌、すい臓がんなど | 非臨床試験 | |
| TRIB1 | がん | 探索 | |
| 非開示 | 非開示 | 探索 | アステラス製薬社 |
| 非開示 | 非開示 | 探索 | アステラス製薬社 |

出所：ファイメクス社HPよりSR社作成（2024年12月現在）

株式取得の理由

同社は企業価値・株主価値の向上に向けた方針として、成長性の向上に重点を置いて将来の成長の基盤を強化しつつ、大型契約の締結により収益性の向上を図ることを掲げ、成長性の向上に向けた創薬バリューチェーンのアップデートとM&Aを重要施策として位置づけている。今回ファイメクス社を子会社化することにより、以下の3点における事業拡大を同社は期待している。

① 創薬バリューチェーンの強化による事業の成長性と競争力の向上

同社は従来、イオンチャネルやGPCRを標的とした低分子化合物の創薬研究基盤を強みとし、多くの医薬品候補物質を生み出している。2022年より「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、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、複数のスタートアップや創薬ベンチャー企業との協業を進めている。ファイメクス社のRaPPIDS™プラットフォームにより、標的タンパク質分解誘導剤（TPD）という新たなモダリティに進出するための基盤技術を手にし、これまでアンドラッグブルであった標的分子や疾患領域をも創薬の対象とすることができ

る。ファイメクス社の子会社化により、同社が目指す次世代の自社創薬バリューチェーンの強化が大きく前進することが期待される。

* 標的タンパク質分解誘導剤（TPD）とは、細胞内にある不要なたんぱく質を分解するシステムを利用し、特定の疾患に関わるタンパク質を分解する低分子化合物。選択的な標的タンパク質の分解によってその機能を阻害するという点で、既存の酵素阻害剤や受容体拮抗薬とは分子レベルの作用機序が異なる。

② ビジネスモデルのハイブリッド化：プラットフォーム型ビジネスによる収益の増加

同社は新薬候補物質の創出と自社開発を行い、後期臨床開発以降は付加価値の高い新薬候補物質を導出・共同研究・自社開発する「パイプライン型」の創薬企業であった。一方、ファイメクス社は探索研究に注力して技術供与と創薬シーズを創出し、前臨床試験以降は主として導出先が開発を実施する「プラットフォーム型」の創薬企業であった。プラットフォーム型の収益構造は、探索段階から共同研究などを行い、早期に契約一時金および研究協力金とマイルストーンに加え、ロイヤルティを得られる。一方で、パイプライン型は探索から導出までは研究開発投資を行う投資フェーズ、導出以降が契約一時金およびマイルストーン、ロイヤルティを受領する回収フェーズとなる。今回の子会社化により同社のビジネスモデルはハイブリッド化され、探索研究の段階から収益を得ることができるようになる。

ファイメクス社は現在、アステラス製薬社との間で複数の標的に対する共同研究を実施中であり、当該共同研究の進展によるマイルストーン、製品化後のロイヤルティや販売マイルストーンなどの収益が得られる可能性がある。標的タンパク質分解誘導剤への注目度は特に海外において高く、米国における類似企業（例：Arvinas（NASDAQ: ARVN）、C4 Therapeutics（NASDAQ: CCCC）、Kymera Therapeutics（NASDAQ: KYMR）、Nurix Therapeutics（NASDAQ: NRIX）など）は独自のプラットフォームを構築し、研究の初期段階からの協業においても安定して高額な契約を獲得している。このような背景に基づき、ファイメクス社は独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™を中核に、国内外から新たな共同研究パートナーを継続的に獲得することを計画しており、収益機会のさらなる拡大が期待される。

③ がん領域のさらなる強化と拡充

同社をオリジンとする上市医薬品には、胃酸分泌抑制剤テゴプラザン（製品名：K-CAB®など）や犬の骨関節炎治療薬 grapiprant（製品名：GALLIPRANT®）等がある。その他の多くの導出済みプログラムについてもライセンス先の製薬会社等において研究開発が進められているが、その多くは疼痛・消化器疾患領域に属するものである。同社は現在取り組んでいる創薬バリューチェーンの強化の一環として、がんを標的疾患とする探索研究に着手しており、子会社テムリック社がレチノイン酸受容体 α 作動薬を用いたがん治療薬の研究開発およびライセンスに係る事業を展開している。ファイメクス社の子会社化により、IRAK-Mをはじめとするパイプラインが加わることで、がんを対象とした同社グループのパイプラインが強化されることとなる。

株式取得の対価および方法

同社は、2024年3月26日付でファイメクス社の発行済株式の全てを既存株主（以下 売主）より取得し、ファイメクス社は同社の連結子会社となった。株式取得の対価は、①同株式取得時に支払う一時金（以下 クロージング対価）と、②ファイメクス社が将来得る収益に基づく支払（以下 アーンアウト対価）で構成される。

① クロージング対価

同社は、2024年3月26日付で売主に対し、クロージング対価4,500百万円を現金にて支払う。これに伴い、同社は2024年3月、株式取得資金として3,500百万円のシンジケートローン（借入期間7年間）の借入れを決定した。

② アーンアウト対価

2024年12月期から2028年12月期の各事業年度において、ファイメクス社と第三者との契約等から発生した契約一時金収入、マイルストーン収入、ロイヤルティ収入及び委受託に係る収入に基づき、あらかじめ定めた算定方法を用いて求められた金額を売主に対して支払う。

同件に係る対価を株式取得の実行時点で一括して支払うのではなく、一部をアーンアウト対価とし、ファイメクス社の収益に応じて支払うことにより、同件に伴い同社が対価を一括で支払うリスクを軽減するとともに、引き続きファイメクス社において業務に従事する一部の売主においては、研究開発活動および収益の拡大へのインセンティブ効果が働くこととなる。

創薬プラットフォームRaPPIDS™

ファイメクス社は、標的タンパク質分解誘導剤（TPD）に特化した独自のプラットフォーム技術である「RaPPIDS™（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）」を有している。このシステムは、多様性志向合成（DOS）を基盤とし、TPD候補を効率的に見出す点に特徴がある。

一般に、TPDは分子サイズが大きくなりやすく、経口投与に適さないことが課題とされている。一方で、ファイメクス社は経口投与が可能なTPDの創出に取り組んでおり、独自の設計・最適化ノウハウを蓄積している。さらに、実験に基づくアプローチにより、特定の既知E3リガーゼにとどまらず、実験データに基づいて新規のE3リガーゼ結合分子（タンパク質分解を誘導するための結合因子：バインダー）を同定できており、既に複数の独自の新規E3結合分子を確立している。

アンドラッグブル領域へのアプローチ

RaPPIDS™は、従来の低分子医薬や抗体では制御が難しい「アンドラッグブル（創薬困難）」とされる疾患標的に対し、ヒトの体内に元々備わっている不要タンパク質の分解メカニズム（ユビキチン・プロテアソーム系）を利用して、原因タンパク質そのものを分解・除去するアプローチを可能にしている。これにより、従来は標的化が困難であった、がん関連タンパク質などに対する画期的な医薬品を生み出すことが期待されている。

RaPPIDS™の主な特徴

1. 新規E3リガーゼバインダーの独自探索（Phenotypic-First Approach）

TPDの開発では、標的タンパク質に分解シグナルを付与するE3リガーゼとの結合分子（バインダー）が重要となる。RaPPIDS™は、分解活性そのものを指標として探索を行う独自の「Phenotypic-First Approach」を採用しており、既存のE3リガーゼ（セレブロンなど）に依存しない新規バインダーを発見・同定できる。現時点で、すでに2種類の独自のE3リガーゼおよびそのバインダーを確立しており、より強力で多様なTPDの設計を可能にしている。

2. 「経口投与可能」なTPDをデザインするノウハウ

TPDは2つの異なる分子を連結した構造を持つため、分子量が大きくなり、経口剤化が難しいという課題がある。RaPPIDS™はこの課題に対し、分子設計と最適化技術を組み合わせることで、経口投与が可能なTPDの創出に取り組んでいる。

3. ハイスループット合成と評価システム

RaPPIDS™は自動合成技術とハイスループットな評価システムを組み合わせることで、週に1,000~1,500個の化合物を合成し、評価する体制を構築している。これにより大量の創薬データを短期間で蓄積し、機械学習（AI）に応用することで、探索効率の向上を図っている。

4. 共同研究を含むハイブリッド型ビジネスモデル

RaPPIDS™は自社のパイプライン開発だけでなく、製薬企業など外部パートナーとの共同研究にも活用されている。例えば、アステラス製薬社との提携では、研究開発の進捗や新規標的の追加に伴うマイルストーン収入を獲得しており、RaPPIDS™の創薬力と実用性と競争力が確認されている。

RaPPIDS™の競争優位性

| | |
|--------------------------|---|
| 高い生産性 | 週1,500を超える化合物の合成能力と、細胞内でのタンパク質分解を直接検出するハイスループット評価系で開発化合物の創出を加速化 |
| 新規E3結合分子を見出すスクリーニングアプローチ | 新規かつ最適なE3リガーゼ結合分子を同定する独自手法により、優れた化合物特性を持つ開発化合物を多種多様な疾患に対して創出可能 |
| 自社オリジナルの新規E3リガーゼ結合分子 | 様々な標的分子の分解に応用可能なE3リガーゼ結合分子を複数同定済み組織特異的標的分解、副作用の回避などにつながる可能性 |
| 経口治療薬の創出力 | TPDの課題である低バイオアベイラビリティを克服し、経口投与可能な開発化合物を創出する専門的ノウハウの蓄積 |

出所：会社資料よりSR社作成

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15化合物、導出準備プロジェクト7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2026年12月初時点で12プログラムあり、自社だけでなく、企業やアカデミア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。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。

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 | 導出対象地域 | 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4月） |
| | | | フィリピン | 販売中（2022年10月） |
| | | | モンゴル | 販売中（2022年10月） |
| | | | メキシコ | 販売中（2023年5月） |
| | | | インドネシア | 販売中（2023年7月） |
| | | | シンガポール | 販売中（2023年9月） |
| | | | ペルー | 販売中（2023年10月） |
| | | | チリ | 販売中（2024年9月） |
| | | | コロンビア | 販売中（2024年10月） |
| | | | ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドル | 販売中（2024年12月） |
| | | | マレーシア、パナマ、インド、タイ | 販売中（2025年12月期） |
| | | | パラグアイ、エクアドル、ロシア | 承認済・販売準備中 |
| ベトナム、中南米5カ国、米国 | 承認審査中 | | | |
| カナダ、ブラジル、南アフリカ・東欧等6カ国、中東・北アフリカ地域 | P3試験実施中・申請準備中 | | | |
| 日本 | 2025年12月導出 | | | |
| レチノイン酸受容体 α 作動薬 | タミバロテン TM-411/SY-1425 | 高リスク骨髄異形成症候群（MDS） 急性骨髄性白血病（AML） | 北米および欧州 | P3終了（米国）、開発中止 P2終了（米国）、開発中止 |
| EP4拮抗薬 | RQ-00000007（grapiprant） | 疼痛 | 全世界 | P2終了（米国） P1終了（中国） |
| | RQ-00000008 | がん | 全世界 | P1終了（米国） P1実施中（中国） |
| | RQ-00000008 | 変形性関節症・自己免疫疾患ほか | 全世界 | 前臨床試験終了 |
| 5-HT4部分作動薬 | RQ-00000009 | アルツハイマー病 | 全世界 | P1終了（米国） |
| COX-2阻害薬 | RQ-00317076 | 疼痛 | 全世界 | P2a終了（米国） P1実施中（中国） |
| CB2作動薬 | RQ-00202730 | 鎮痛など | 全世界 | P1実施中（英国） |
| 選択的ナトリウムチャネル遮断薬 | 非開示 | 鎮痛・鎮痒 | 全世界 | 非開示 |
| P2X7受容体拮抗薬 | RQ-00466479 AK1780 | 神経障害性疼痛 | 全世界 | P2終了（米国ほか） |
| 特定のイオンチャネル | 非開示 | 消化器領域 | 全世界 | 非開示 |
| TRPM8遮断薬 | RQ-00434739 | 慢性疼痛 | 日本を除く全世界 | P1実施中（豪州） |
| ナトリウムチャネル遮断薬 | RQ-00350215 | 慢性疼痛 | 全世界 | P1実施中 |
| IRAK-M分解誘導薬 | FIM-001 | がん | 全世界 | 前臨床試験実施中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2026年2月現在）

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）

テゴプラザンの特徴

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候補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。

*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。

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な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（ボノプラザン：商品名タケキャブ®）との一番の違いは、酸分泌抑制の効果の立ち上がりの速さである。同社によれば、テゴプラザンの酸分泌抑制能はボノプラザンと同程度であり、PPIと比較すると強い。

テゴプラザンは、韓国において、ボノプラザンが日本では適応を取得していない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、ボノプラザンは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、ボ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、テゴプラザンはボ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。

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 武田薬品工業社）のボノプラザン（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化体になってから胃酸の分泌抑制作用を現すのに対し、ボ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抑制作用を現す（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）との置き換えが順調に進んだ。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、国内医療用医薬品売上高第3位となった。2025年におけるタケキャブ®の売上高は125,318百万円（同4.4%増）で、第5位であった。一般的に医薬品は発売から5～6年でピーク売上に達すると言われるが、発売から10年後でも売上高は増加を続けている。タケキャブの薬価は、2015年2月1日から適用される薬価収載時には10mg錠が160.12円、20mg錠が240.20円であったが、2026年4月1日から適用される薬価は、10mg錠が91.6円、20mg錠が136.7円である（OD錠同じ）。

権利を韓国HKイノエン社に導出し、韓国ではNo.1シェアを維持

同社は、米国におけるテゴプラザンの第1相臨床試験終了時点の2010年6月に、韓国のCJ HealthCare Corporation (KOSDAQ 195940、現 HK inno.N Corporation、以下 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月に東アジア地域（韓国、香港を含む中国、台湾地域）におけるテゴプラザンの開発・製造および販売の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結した。2019年以降徐々に対象地域を拡大して、現在では日本を除いた全世界における権利を供与している。

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2025年の販売額（院外処方データ）は、2,179億ウォン（前期比10.7%増、約23,969百万円、1韓国ウォン0.11円換算）と順調に推移し、2019年から2025年までの累計処方実績が合計9,233億ウォン（約101,563百万円、同）となった。2025年までの6年間の売上高年平均成長率は、39.2%である。K-CAB®は発売以来2ケタ成長を継続し、2025年12月末時点における韓国における抗潰瘍剤市場でのシェアは15%で、1位を維持している。

韓国で販売中のK-CAB®



出所：HKイノエン社HP

適応症の拡大やOD錠により韓国国内でシェアを拡大

HKイノエン社はK-CAB®の口腔内崩壊錠（OD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、販売ロイヤル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。

テゴプラザンの世界各国における展開

同社はHKイノエン社に日本を除いた全世界における開発・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イノエン社は、2028年までに世界100カ国に進出することを目標としている。HKイノエン社および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。2025年12月期末時点でテゴプラザン製品が販売されている国は19カ国に上り、世界57カ国に進出している。

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、今後は長期的な投資回収期に入ると同社は考えている。

韓国に続く2カ国目として2022年にサブライセンス先であるLuoxin社によって製品販売が開始された中国では、現在31の省・行政区でテゴプラザンが販売されている。Luoxin社は、注射剤の開発に向けた臨床試験の実施について国家薬品监督管理局から承認を受け、さらにヘリコバクター・ピロリ感染症の治療を目的とした併用療法に関する販売承認を取得した。

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6千万米ドル（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。

販売地域拡大によりロイヤルティ収入の増加を見込む

2025年6月期末時点で、HKイノエン社のライセンス先である企業（以下 サブライセンス先企業）が、韓国を除く53カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。2025年1月にはオーストラリアとニュージーランドにおいて、HKイノエン社がサブライセンス契約の締結を発表し、テゴプラザンの進出は48カ国となった。2025年5月には、HKイノエン社がサブライセンス先のTabuk社との地域拡大契約の締結を発表し、中東・北アフリカ地域における対象地域が合計16カ国となった。

2025年6月末時点でテゴプラザンが販売されているのは、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、マレーシア、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドルおよびパナマの17カ国である。同社はHKイノエン社との契約に基づき、開発の進展に応じたマイルストーン収入、または製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部を受領している。

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。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

| | | | | | | |
|--------------------|---|--------------|---|-----------------|---|---|
| グローバル潜在市場規模 | × | 獲得シェア | × | ロイヤルティ料率 | = | 同社が受け取る ロイヤルティの 最大ポテンシャル |
| 2兆円 | | 韓国15% | | 一般的に1~10% | | |

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* | 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 | 120,000 |
| 中国 | Luoxin社 | 2022年4月発売 | 450,000 |
| フィリピン | MPPI社 | 2022年10月発売 | 5,000 |
| モンゴル | Monos社 | 2022年10月発売 | - |
| メキシコ | Carnot社 | 2023年5月発売 | 66,000 |
| インドネシア | Kalbe社 | 2023年7月発売 | 50,000 |
| シンガポール | UITC社 | 2023年9月発売 | 50,000 |
| ペルー | Carnot社 | 2023年10月発売 | 66,000 |
| タイ、ベトナム、マレーシア | Pond's社、Lynn farma社、Pharmaniaga社 | マレーシアは2025年Q2発売、タイは承認済・販売準備中、ベトナムは承認審査中 | 50,000 |
| アルゼンチンなど中南米15カ国 | Carnot社 | チリほか中南米8カ国で発売、2カ国で承認済、5カ国で承認審査中 | 66,000 |
| ブラジル | Eurofarma社 | 申請準備中 | 88,000 |
| 米国・カナダ | Braintree社 | P3試験完了、申請準備中 | 460,000 |
| インドなど7カ国 | Dr.Reddy社 | インドは承認済・販売準備中、他はP3試験実施中・準備中 | 140,000 |

出所：会社資料よりSR社作成（2025年8月現在）

*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に置き換えることにより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ようになる。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。

米国における第Ⅲ相臨床試験における良好なトップラインデータ

同社はHKイノエン社との間で、2019年11月に北米・欧州を対象とした提携拡大契約を締結した。HKイノエン社は2021年12月に、米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（非上場、以下 Sebela社）の一部門である消化器疾患治療薬専門企業のBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）との間で、米国およびカナダにおける独占的な開発・製造および販売権に関するライセンス契約を締結している。

同社は2025年4月、Braintree社が2022年10月から米国で実施中の第Ⅲ相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）について、良好なトップライン結果を発表した。TRIUMpH試験は、びらん性胃食道逆流症（EE）および非びらん性胃食道逆流症（NERD）を対象とした米国第Ⅲ相臨床試験のピボタル試験（承認申請に必要なデータを取得するための検証的試験）として実施された。TRIUMpH試験において、テゴプラザンはEE試験とNERD試験の両方で全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。特にEE試験では、全体患者群および中等度から重度の疾患を有する患者群において、2週間および8週

間の治癒率は、プロトンポンプ阻害薬（PPI）の一種で、比較対象となったランソプラゾール（lansoprazole）に対して、テゴプラザンの統計学的優越性が示された。またNERD試験では、テゴプラザンが胸焼けと胃酸逆流症状を完全に改善する有効性が確認された。

TRIUMpH試験の各試験における治療関連有害事象の発生率は3%以下であり、一般に軽度かつ一過性であった。各試験における重篤な治療関連有害事象の発生率は2%以下であり、安全性および忍容性はテゴプラザンとランソプラゾールおよびプラセボ（有効成分を含まない偽薬）と同程度であった。テゴプラザンとランソプラゾールの血清ガストリン平均値は、治療期間中正常範囲（0~180pg/ml）内に維持された。

Braintree社は、TRIUMpH試験のうちEE試験を2025年12月期第3四半期に完了し、EEおよびNERDの両方を適応症として2025年12月期第4四半期に米国FDAに承認申請を提出する予定である。現在、胃食道逆流症の第一選択薬はPPIであるが、米国ではPPIで症状が完全に緩和されない患者が約40%存在しており、Sebela社では米国におけるシェア20%~25%、ピークセールス140,000百万円を見込んでいる。

日本におけるテゴプラザンの導出

ベスト・イン・クラスとなる可能性

日本販売が先行しているP-CABの「タケキャブ[®]」（前述）は、日本においては非びらん性胃食道逆流症の適応症を取得していない。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：大阪市医学会「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。

日本におけるテゴプラザンの導出交渉長期化

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いる。当初は第1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、2024年12月期以降に導出を計画していた。しかし、導出候補先からのアプローチを受けて、最速の上市を目指し、臨床薬理試験を行わずに2023年12月期中に導出する計画に変更した。2023年12月期から候補先との交渉を開始し、2023年末までの締結を見込んでいたが、以下の3点について交渉が長期化した。

同社によれば、日本におけるテゴプラザンの導出候補先との協議においてポイントとなったのは、1) 開発の加速化・リスク低減、2) 原薬・製剤の供給、3) 薬価引き下げ懸念の3点であった。

1) については、提携先のHKイノエン社やBraintree社と協議を重ねることで、海外臨床情報を最大限活用することが可能となった。2) については、現在韓国や中国などで販売を行っているHKイノエン社との提携により、原薬・製剤の供給が可能となった。同社によれば、1) と2) の課題は、2023年の早い段階で解決した。3) については、今後も継続すると予想される薬価引き下げに備えて、価格弾力性を持たせる必要があるとして、ライセンス対価や供給コストなどの諸条件について、導出候補先との交渉が長期化している。2024年12月期中の契約を目指していたが、提携先候補企業の意思決定に至らず、成約できなかった。

韓国やアメリカのデータを活用

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に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との交渉を開始していた。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。

HKイノエン社へのテゴプラザン日本導出と資本業務提携の拡大

2025年12月、同社は、胃酸分泌抑制剤「tegoprazan（テゴプラザン）」の日本における開発・販売にかかるサブライセンス権付き独占の実施権をHKイノエン社に導出するとともに、第三者割当による新株式発行を通じて資本業務提携を拡大すると発表した。第三者割当増資による調達資金は約1,402百万円であり、創薬研究基盤の強化およびパイプライン拡

充に向けた研究開発投資に充当するほか、シンジケートローンによる銀行借入金2,750百万円の一部の返済を通じた財務体質の改善にも充てる方針である。

同社は2025年12月期の最重要課題としてテゴプラザンの国内事業化を掲げ、複数の候補先と期中の契約締結に向けた協議を進めてきた。同社によれば、テゴプラザンの国内導出は同社の企業価値の維持・向上に直結する重要事項である。また、開発着手の遅延による市場投入の遅れが事業採算性に影響を及ぼす可能性がある点を踏まえ、開発のタイミングを重視して検討を行ってきた。

これらを踏まえ、HKイノエン社との協力関係をさらに強化することを目的として、提携内容を拡大する判断に至った。日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権の許諾に際して契約一時金の設定はないものの、今後の開発進捗および事業化の状況に応じたマイルストーン収入、販売ロイヤルティ、ならびにHKイノエン社が提携先から受領する収益の一部を受け取る権利を有している。

同社は、HKイノエン社を選定した最大の理由は、「スピード」であるとしている。競合薬であるタケキャブ（一般名：ボノプラザン）について、2030年代初頭に特許切れを迎える可能性がある点を見据え、日本市場において十分な販売期間を確保するためには、ジェネリック品の参入前に上市することが重要である。このため国内における臨床開発への早期着手を優先し、「年内の契約締結」および「早期の開発開始」を重視した結果、テゴプラザンに関する製品知識および開発ノウハウを有するHKイノエン社へ導出することとした。なお、日本における後期臨床試験に係る開発費用はHKイノエン社が負担する契約となっており、同社は第三者割当増資による資本提携と併せて、開発推進体制の整備を図ることとしている（中期事業計画の項を参照）。

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®と同一化合物である。2013年1月、当時同社の100%子会社であった株式会社AskAt（非上場、以下 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された。2023年9月に、AskAt社は、Ikena社の研究戦略の変更に伴うポートフォリオの見直しにより、EP4拮抗薬のがん免疫における全世界を対象としたライセンス契約を同年3月に解消したことを発表した。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。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241,500百万円、1ドル150円換算）で、2027年には2,370百万米ドル（約355,500百万円、同）に増加すると予測されている。

同社は2015年11月、AskAt社との間でCB2作動薬に関する権利売買契約を締結した。当該契約に基づき、同社はCB2作動薬に関する知的財産権をAskAt社に譲渡するとともに、AskAt社がCB2作動薬により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権利を保有している。

AskAt社のライセンス先であるOxford Cannabinoid Technologies Ltd. (LON OCTP、以下 OCT社) が、2023年1月に英国医薬品庁 (MHRA、Medicines Healthcare products Regulatory Agency) および倫理審査委員会 (REC、Research Ethics Committee) に対して治験申請を行い、承認を取得した。OCT社は同年7月、化学療法誘発性末梢神経障害 (CIPN) を主な適応症として英国における第Ⅰ相臨床試験を開始して被験者への最初の投与を実施し、2024年12月時点では単回投与試験が実施されていた。

2026年2月、AskAt社がOCT社との間で締結したライセンス契約を解約したことを発表した。同社によれば、今回の解約はOCT社による契約違反によるものであり、開発上の理由で解約に至ったものではない。AskAt社はCB2作動薬の開発を継続すべく、新たなパートナーを探索する。同社は今後も引き続きAskAt社との連携をより強固にし、開発支援ならびにライセンス契約支援を継続して実施する方針である。

P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479)

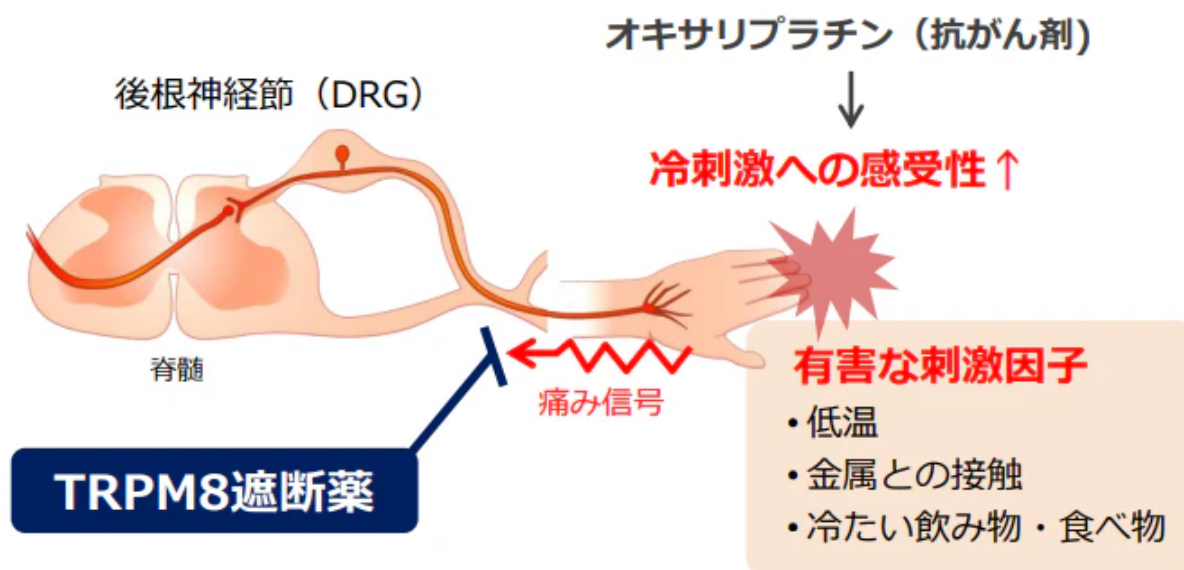
P2X7受容体拮抗薬は、2018年3月にライセンス契約を締結した旭化成ファーマ社との共同研究から創出された化合物である。末梢性神経障害性疼痛の治療薬を目指して第Ⅰ相臨床試験が終了しており、旭化成ファーマ社がライセンス契約を締結したリリー社が、第Ⅱ相臨床試験以降のグローバル開発を行う。同社は旭化成ファーマ社とのライセンス契約に基づき、商業化に成功した場合、同社は旭化成ファーマ社の収益に対して一定の料率でロイヤルティ収入を得ることとなっている。2022年11月、リリー社が第Ⅱ相臨床試験を開始してマイルストーンを達成し、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドル (約500百万円、1米ドル125円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

2024年8月、サブライセンス先のリリー社が米国で実施した3つの疾患 (変形性関節症による膝の痛み、慢性腰痛症、糖尿病性神経障害性疼痛) に関する第Ⅱ相臨床試験の試験結果が公表された。安全性については大きな問題はなく良好だったものの、有効性については主要評価項目に未達となった。現在リリー社において、今後の開発計画を検討中である。

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 (アサスピロ誘導体) 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と痛みのメカニズム



出所：会社資料

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、2024年3月には豪州当局から第Ⅰ相臨床試験の開始を承認された。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）。

2024年5月、Xgene社は豪州において第Ⅰ相臨床試験を開始した（開始に伴う一時金はなし）。第Ⅰ相臨床試験では健康なボランティアを対象とした用量漸増試験により、TRPM8遮断薬の忍容性および薬物動態に関するデータを取得する。その後、Xgene社は中国および米国において、がん性疼痛と神経因性疼痛を対象とした第Ⅱ相試験に進める方針である。

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、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数百十億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。

2024年10月、同社は久光製薬社からマイルストーン達成にかかる一時金100百万円を受領した。開発段階は非開示とされているが、第Ⅰ相臨床試験が開始されたとSR社ではみている。

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進行している。「特定のイオンチャンネル」は、消化器領域を適応としてEAファーマ社に導出済である。「選択的ナトリウムチャンネル遮断薬」は鎮痛・鎮痒を適応として2017年12月にマルホ社に導出し、2021年3月にはマイルストーンを達成して一時金を受領したが、2024年12月にライセンス契約を終了した。

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）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。

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）

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 の選択的作動薬である。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、製品名アムノレイク[®]錠として日本新薬株式会社（東証PRM 4516、以下日本新薬社）が販売している。

*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。

| | |
|------|--|
| 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）ケムフィズ |

出所：会社資料よりSR社作成

同社の連結子会社であったテムリック株式会社（以下テムリック社）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、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）に譲渡した。その後はがん領域に特化した創薬事業を行い、2017年2月に同社の完全子会社となった。グループの事業効率化を図るため、コストの削減と管理業務の簡素化および効率化を実現することを目的として、2026年1月1日付で、テムリック社は同社に吸収合併（簡易合併・略式合併）された。

米国シロス社への導出

テムリック社は2015年9月、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Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下シロス社）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RARα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た。

*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RARαの発現量を解析すると、MDSの約50%、AMLの約30%でRARα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RARα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を受けた。

2023年1月に米国FDAから高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象に、また2024年4月には急性骨髄性白血病（AML）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。

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。

シロス社による臨床試験の結果

シロス社による、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（SELECT-MDS-1）において、主要評価項目の解析に必要な症例登録が2024年12月期第1四半期に完了した。ピボタルデータを第4四半期半ばまでに公表し、その後NDA申請を行う計画であったが、同年11月には、同試験において主要評価項目である完全奏効率（CR率）が達成できなかったこと、および今後同試験を中止し、臨床試験データを詳細に検証して次のステップについて検討することを発表した。

AMLについてシロス社は、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（SELECT-AML-1）の安全性導入パートのデータを2022年12月公表した。その後、無作為化試験パートに進み、2023年12月に無作為化試験パートの結果を発表した。2024年8月、第Ⅱ相臨床試験に登録された51例のデータを用いて、拘束力のない無益性解析*を含む中間解析が行われた。この中間解析の結果、80例のデータを用いた最終解析でSELECT-AML-1試験が優位性を示す確率は低いと考えられたことから、シロス社は新規の患者登録を中止する決定を下した。なお、タミバロテンをベネトクラクスとアザシチジンと併用することによる新たな安全性の懸念は認められなかった。シロス社は、これらの結果を同年9月に開催された第12回血液腫瘍学会（SOHO）年次総会で発表した。

*無益性解析とは、事前に想定した仮説と評価基準に基づいて試験結果を統計的に予測し、試験継続の可否を判断するための解析である。

MDSについては、タミバロテンとアザシチジンの併用療法に関する第Ⅲ相臨床試験（SELECT-MDS-1）の主要評価項目の解析に必要な症例登録が、2024年12月期第1四半期に完了した。シロス社は、同年11月、同試験において主要評価項目である完全奏効率（CR率）が達成できなかったこと、および今後同試験を中止し、臨床試験データを詳細に検証して次のステップについて検討することを発表した。あわせて、同SELECT-MDS-1試験の主要評価項目を達成できなかったことが、既存の担保付融資契約における債務不履行事由に該当することを公表した。タミバロテンの権利はシロス社から返還されており、同社は今後の可能性について検討している。

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。

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。上市している3品は、現在エランコ社により販売されている。

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 | 主適応症 | 実施地域 | 開発段階 |
|--------------------|----------------------------|-----------------|----------------|-----------------------------|
| EP4拮抗薬 GALLIPRANT® | RQ-00000007 (grapiprant) | 変形性関節症（犬） | 米国 欧州 日本 | 販売中 販売中 販売中 |
| グレリン受容体作動薬 ENTYCE™ | RQ-00000005 (capromorelin) | 食欲不振（犬） | 米国 | 販売中 |
| グレリン受容体作動薬 ELURA™ | | 慢性腎疾患の体重減少管理（猫） | 米国 欧州 日本 | 販売中 承認取得、販売中 承認取得、販売中 |
| COX-2阻害薬 | RQ-00317076 | 疼痛 | — | 探索研究終了 |
| EP4拮抗薬 | RQ-00000008 | 変形性関節症ほか | 全世界 | 前臨床試験実施中 |
| 5-HT4作動薬 | RQ-00000010 | 腸管運動障害（犬・猫） | 全世界（動物） | POC試験実施中 |
| 特定の4化合物 | 非開示 | 評価中 | 全世界 | 評価中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年11月現在）

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、米国で販売されている。2022年3月には欧州で承認申請を行ったことに伴い、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になっている。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™は2022年3月に欧州で承認申請を行っており、2023年5月には欧州医薬品庁（EMA）動物用医薬品委員会（CVMP）が肯定的意見を採択していた。2023年中に承認を取得しており、2024年8月にフランスで販売が開始され、マイルストーン達成に伴う一時金を受領した。また、日本においても2024年2月にエランコ社が農林水産省から日本国内における製造販売承認を取得し、同年11月に販売開始となった（販売開始に伴う一時金はなし）。

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。Global Market Insights Research Inc.（非上場）によれば、2022年において米国では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）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。

新規ライセンス契約

5-HT₄作動薬（RQ-00000010）

2023年4月、同社とVetbiolix SAS（非上場、以下 Vetbiolix社）は、同社が創製した5-HT₄作動薬であるRQ-00000010（以下 RQ-10）に関して、犬・猫の腸管運動障害を対象としたペット用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約（以下 同契約）を締結した。同契約により同社はVetbiolix社に対し、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した。2024年12月、オプション権の行使により、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受けた。今後はRQ-10の開発の進捗に応じたマイルストーン、および上市後にVetbiolix社が受領した製品売上高またはライセンス収入に応じた販売ロイヤルティを受け取る権利を取得する。

4つの開発化合物

2024年4月、同社は米Velovia社との間で、動物用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約を締結した。同社はVelovia社に対し、4つの開発化合物（以下 同化合物）を含有する動物用医薬品の評価、開発、製造および販売などに関する独占的ライセンスに関するオプションを付与した。Velovia Pharma社から1つまたは複数の同化合物に対してオプションが行使された場合、同社はVelovia Pharma社からオプション行使料を受け取るとともに、その後の開発の進捗に応じたマイルストンの支払いを受ける権利を取得する。さらに、同化合物を含有する動物用医薬品が販売に至った場合、同社は製品売上高に基づく販売ロイヤルティおよび売上マイルストーンを、Velovia Pharma社から受け取る可能性がある。

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。2024年4月の薬価改定までの過去5回では、医療費ベースで平均1.18%、薬剤費ベースで平均5.51%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ペット用医薬品は、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。このうちTRPM8遮断薬は、日本以外の権利を導出済である。

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 |
|------------------------|-------------|----------------------------|---------|----------|
| 5-HT ₄ 作動薬 | RQ-00000010 | 胃不全麻痺・機能的胃腸症・慢性便秘 | 全世界（ヒト） | P1終了 |
| 5-HT _{2B} 拮抗薬 | RQ-00310941 | 下痢型過敏性腸症候群（IBS-D） | 全世界 | P1終了（英国） |
| モチリン受容体作動薬 | RQ-00201894 | 胃不全麻痺・機能的胃腸症・術後イレウス | 全世界 | 前臨床試験終了 |
| 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 | 前臨床試験実施中 |
| IRAK-M分解誘導薬 | FIM-001 | 各種がん（非小細胞肺癌、すい臓がんほか） | — | 前臨床試験実施中 |
| TRPM8遮断薬 | RQ-00434739 | 疼痛 | 日本 | 前臨床試験実施中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2025年12月現在）

5-HT₄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。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たが、計画時より前臨床試験が長引いている。2024年12月期末時点で前臨床試験はほぼ完了しており、一部の試験の報告書の完成を待つ段階となっている。さらに臨床試験用の原薬の製造は完了していることから、臨床試験がすぐに開始できる状態であり、同社は臨床試験開始前での導出を目指している。

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、がん関連死の30%に関係するとされている。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ものの、現在の治療オプションは限定的である。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。

脊髄損傷者の約60%は自律神経障害により排便障害を患っており、慢性便秘は人口の10～15%、高齢者はさらに高い割合となっているが、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。同社が開発しているグレリン受容体作動薬は、グレリンというホルモンの作用を模倣する経口投与可能な低分子化合物で、高い生物活性と排便亢進と体重を増加させる作用がある。作用機序は、ペット用医薬品として上市しているENTYCE™とELURA™と共通しており、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。

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

口誘導体)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)TRPM遮断薬の項を参照)。日本国内の権利は、引き続き同社が保有している。

モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894)

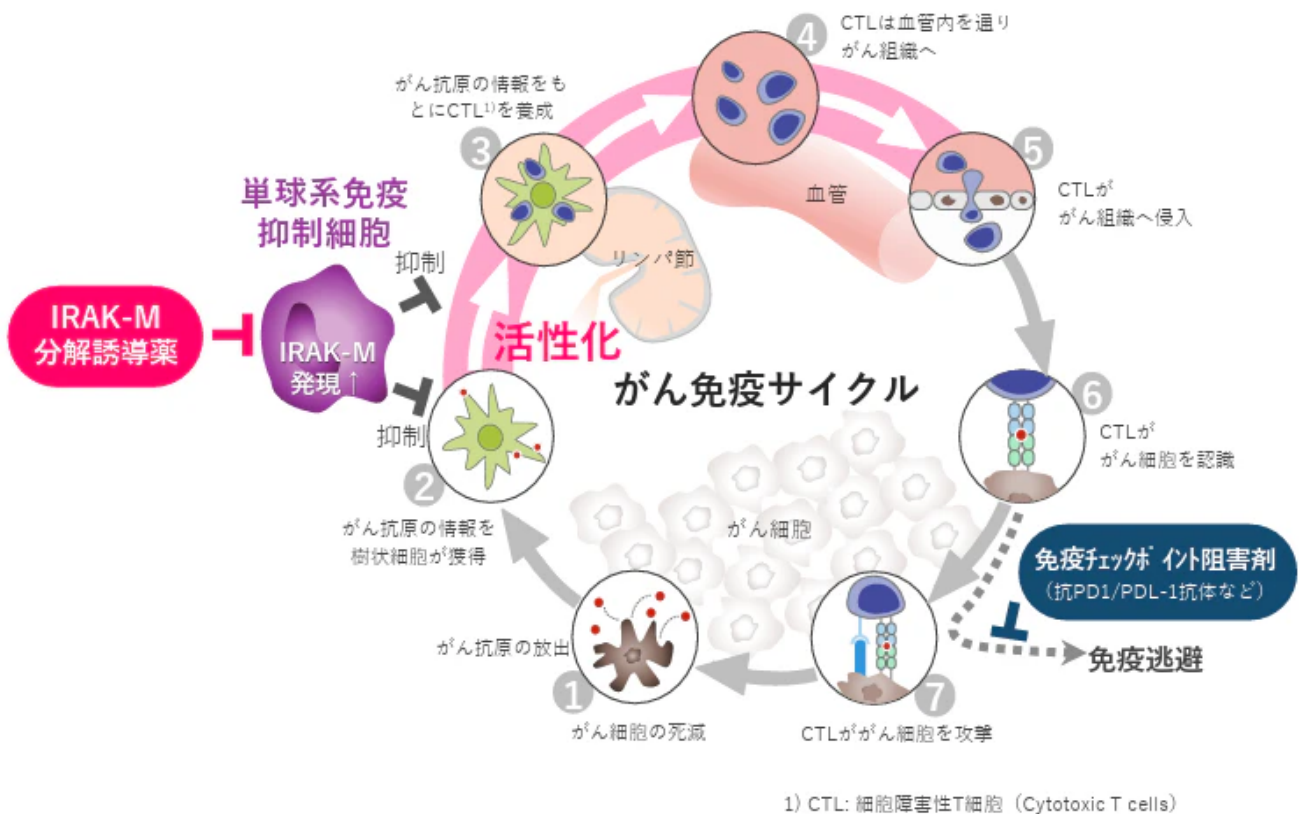
胃不全麻痺、機能的胃腸症、術後イレウスなどの消化管運動不全を目標適応症とした化合物。第Ⅰ相臨床試験の実施に必要な前臨床試験を終了しており、導出活動を進めるほか、次の開発段階である第Ⅰ相臨床試験の実施に向けた検討を行っている。

IRAK-M分解誘導薬 (FIM-001)

ファイメクス社により創出された標的タンパク質分解誘導剤であり、IRAK-Mの分解による免疫抑制機構の解除を機序としたがん免疫療法である。免疫チェックポイント阻害剤とは異なる新規のメカニズム(下図参照)により、全身性の免疫抑制機構を解除する。そのため、免疫チェックポイント阻害剤への薬剤耐性(薬剤のターゲットであるタンパク質に何らかの変異が生じることにより、薬剤が効かなくなる状態)を克服する可能性がある、と同社はみている。

想定される主な適応がん種としては、非小細胞肺癌と膵臓がんを想定して前臨床試験を実施しており、導出活動も行っている。非小細胞肺癌の年間新規罹患患者数は米国が180千人、日本は110千人、すい臓がんは米国が49千人、日本は32千人である。

IRAK-M分解誘導薬の標的と作用機序



出所: 会社資料

探索研究段階のパイプライン

2025年12月期初時点で、同社が探索研究を行っているプログラムは11本あり、標的タンパク質分解誘導剤 (TPD) などの新規モダリティにより、がん領域と神経疾患に注力している。

| 2024年期初：9プログラム | 低分子化合物 | TPD | その他新規モダリティ | 合計 |
|-----------------|--------|-----|------------|----|
| がん | 0 | 0 | 1 | 1 |
| 神経疾患 | 4 | 0 | 1 | 5 |
| 眼疾患 | 2 | 0 | 0 | 2 |
| その他の疾患 | 1 | 0 | 0 | 1 |
| 2025年期初：11プログラム | 低分子化合物 | TPD | その他新規モダリティ | 合計 |
| がん | 0 | 4 | 1 | 5 |
| 神経疾患 | 2 | 0 | 2 | 4 |
| 眼疾患 | 2 | 0 | 0 | 2 |
| その他の疾患 | 0 | 0 | 0 | 0 |

出所：会社資料よりSR社作成

特定のイオンチャ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）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。

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、2023年の世界の医療用医薬品の売上高は1.6兆米ドル(約239.9兆円、1米ドル150.0円換算)であった。また、世界の医薬品市場は2028年までに2.3兆米ドル(約345兆円、同)に上昇し、年平均成長率を5~8%と予測している。一方、2023年における日本の市場規模は723億米ドル(約10.8兆円、同)、5年間の年平均成長率は-3.0%である。

世界の医薬品市場規模

| (10億米ドル) | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 | 直近5年間 CAGR |
|----------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------------|
| 米国 | 389.4 | 430.6 | 455.4 | 464.7 | 492.8 | 521.0 | 544.6 | 588.9 | 645.9 | 727.4 | 8.1% |
| 前年比 | 13.6% | 10.6% | 5.8% | 2.0% | 6.0% | 5.7% | 4.5% | 8.1% | 9.7% | 12.6% | |
| 日本 | 85.4 | 78.8 | 89.1 | 84.8 | 84.2 | 87.9 | 87.4 | 86.7 | 74.8 | 72.3 | -3.0% |
| 前年比 | -5.8% | -7.7% | 13.1% | -4.8% | -0.7% | 4.4% | -0.6% | -0.8% | -13.7% | -3.3% | |
| 中国 | 111.4 | 120.5 | 122.6 | 127.7 | 136.7 | 150.5 | 148.5 | 171.4 | 162.8 | 160.8 | 3.3% |
| 前年比 | 14.5% | 8.2% | 1.7% | 4.2% | 7.0% | 10.1% | -1.3% | 15.4% | -5.0% | -1.2% | |
| 欧州 | 266.2 | 238.5 | 244.5 | 258.5 | 273.7 | 281.8 | 298.4 | 334.7 | 327.9 | 360.1 | 5.6% |
| 前年比 | 3.1% | -10.4% | 2.5% | 5.7% | 5.9% | 3.0% | 5.9% | 12.2% | -2.0% | 9.8% | |
| 中南米 | 65.1 | 74.7 | 86.9 | 97.9 | 59.8 | 60.5 | 56.3 | 68.7 | 76.5 | 83.5 | 6.9% |
| 前年比 | -10.2% | 14.7% | 16.3% | 12.7% | -38.9% | 1.2% | -6.9% | 22.0% | 11.4% | 9.2% | |
| その他 | 138.4 | 160.9 | 142.8 | 145.7 | 156.0 | 163.3 | 164.9 | 188.8 | 192.1 | 195.5 | 4.6% |
| 前年比 | 4.5% | 16.3% | -11.2% | 2.0% | 7.1% | 4.7% | 1.0% | 14.5% | 1.7% | 1.8% | |
| 世界合計 | 1,055.9 | 1,104.0 | 1,141.3 | 1,179.3 | 1,203.2 | 1,265.0 | 1,300.1 | 1,439.2 | 1,480.0 | 1,599.6 | 5.9% |
| 前年比 | 6.2% | 4.6% | 3.4% | 3.3% | 2.0% | 5.1% | 2.8% | 10.7% | 2.8% | 8.1% | |

出所：製薬協DATABOOK2025（データ原典はIQVIA World Review）よりSR社作成

*年平均成長率は2023年までの5年間

為替変動の影響を排除した、2023年における日本円ベースの厚生労働省の薬事工業生産動態統計調査に基づく国内医薬品市場規模は、約13.1兆円（前年比2.7%増）であった。また、医療用医薬品出荷額をみると、2023年の国内出荷額は約12.4兆円（前年比4.5%増）であった。2018年度から毎年実施される薬価改定や安価な後発医薬品の使用奨励により、高齢化とともに増大する国民医療費の抑制に努めてきたことなどから、国内市場規模は縮小傾向にあったが、新型コロナウイルス感染症の拡大に伴うワクチンの輸入などにより、増加したものとみられる。

国内医薬品市場の推移

| (10億円) | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 | 直近5年間 CAGR |
|-----------|---------|----------|----------|---------|---------|----------|----------|----------|----------|----------|---------------|
| 国内医薬品市場規模 | 9,652.1 | 10,616.7 | 10,393.6 | 9,992.7 | 9,866.6 | 11,787.4 | 11,629.4 | 11,650.9 | 12,747.7 | 13,092.8 | 5.8% |
| 前年比 | -1.9% | 10.0% | -2.1% | -3.9% | -1.3% | 19.5% | -1.3% | 0.2% | 9.4% | 2.7% | |

出所：厚生労働省「薬事工業生産動態統計調査」のデータよりSR社作成

*国内医薬品市場規模＝国内生産額－輸出額＋輸入額で算出。

| (10億円) | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 |
|----------------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|--------|--------|--------|--------|--------|
| 医薬品 | | | | | | | | | | | |
| 国内生産 | 6,894 | 6,590 | 6,748 | 6,624 | 6,721 | 6,908 | 9,486 | 9,305 | 9,180 | 9,982 | 10,033 |
| 前年比 | -1.2% | -4.4% | 2.4% | -1.8% | 1.5% | 2.8% | 37.3% | -1.9% | -1.3% | 8.7% | 0.5% |
| 輸入 | 3,077 | 3,188 | 4,022 | 3,945 | 3,438 | 3,148 | 2,753 | 2,853 | 3,093 | 3,414 | 3,773 |
| 輸出 | 130 | 126 | 154 | 176 | 167 | 189 | 443 | 513 | 563 | 649 | 713 |
| 国内出荷 | | | | | | | 11,224 | 10,897 | 11,203 | 11,823 | 12,360 |
| 前年比 | | | | | | | -2.9% | 2.8% | 5.5% | 4.5% | |
| 医療機器 | | | | | | | | | | | |
| 国内生産 | 1,905 | 1,989 | 1,946 | 1,915 | 1,990 | 1,949 | 2,568 | 2,426 | 2,602 | 2,583 | 2,675 |
| 前年比 | 0.5% | 4.4% | -2.2% | -1.6% | 4.0% | -2.1% | 31.8% | -5.5% | 7.2% | -0.7% | 3.6% |
| 輸入 | 1,301 | 1,369 | 1,425 | 1,556 | 1,650 | 1,620 | 2,723 | 2,637 | 2,815 | 2,918 | 3,322 |
| 輸出 | 530 | 572 | 623 | 584 | 619 | 668 | 1,009 | 991 | 1,003 | 1,094 | 1,126 |
| 国内出荷 | | | | | | | 3,986 | 3,935 | 4,233 | 4,186 | 4,549 |
| 前年比 | | | | | | | -1.3% | 7.6% | -1.1% | 8.7% | |
| 医薬部外品 | | | | | | | | | | | |
| 国内生産 | 925 | 923 | 922 | 947 | 951 | 1,000 | 1,343 | 1,405 | 1,400 | 1,407 | 1,425 |
| 前年比 | 15.6% | -0.2% | -0.2% | 2.7% | 0.5% | 5.1% | 34.4% | 4.6% | -0.4% | 0.5% | 1.3% |
| 再生医療等製品 | | | | | | | | | | | |
| 国内生産 | | | | | | | 6 | 6 | 7 | 7 | 11 |
| 前年比 | | | | | | | 0.0% | 25.5% | -2.9% | 58.2% | |

出所：厚生労働省「薬事工業生産動態統計年報」のデータより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（約0.7兆円、1米ドル150.0円換算）から2027年には5.9十億米ドル（約0.9兆円、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（約0.6兆円、同、CAGR2.5%）に達すると予測されている。

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 | |
| | 17百万人（日本） | 4,500億円 | （米国） | PPI | テゴブラザン |
| 疼痛 | 50百万人（米国） | 2兆4000億円 | （全世界） | プレカバリン | EP ₄ 拮抗薬、COX-2阻害薬、 |
| | 23百万人（日本） | 3,000億円 | （日本） | デュロキセチン | TRPM8遮断薬、P2X7受容体拮抗薬、 |
| がん免疫 | がん患者の約12%ががん免疫療法に应答 | 10兆円 | （全世界） | セレコキシブ（ほか） | ナトリウムチャンネル遮断薬 |
| | | | | ニボルマブ | EP4拮抗薬 |
| 慢性便秘 | 42百万人（米国） | 6,600億円 | （全世界） | ペムプロロシマブ（ほか） | |
| | | | | リナクロチド | 5-HT ₄ 作動薬 |
| 胃不全麻痺 | 80~400千人 | 2,000億円 | （全世界） | ルビプロストン（ほか） | |
| | | | | メトクロプラミド（ほか） | 5-HT ₄ 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-HT _{2B} 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 |
| 骨髄異形成症候群 | 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 | 毎年2万人が発症（米国・欧州） | 1兆円 | （全世界） | アザシチジン | タミバロテン |
| | 16万人（全世界） | | | | |
| | 毎年2.5万人が発症（米国・欧州） | | | ベネトクラクス（ほか） | |
| | 7千人（日本） | | | | |

出所：会社資料よりSR社作成

国内医薬品市場の推移

IQVIA社によると、2024年の国内医療用医薬品の売上高は11.5兆円（前年比2.0%増）となり、10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上位10薬効に入らず開示されていないが、武田薬品工業社の抗潰瘍薬「タケキャブ®」は120,060百万円（同3.9%増）で、製品別売上高第4位であった。

国内医療用医薬品市場推移

| (百万円) | 2000 | 2001 | 2002 | 2003 | 2004 | 2005 | 2006 | 2007 | 2008 | 2009 |
|----------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|
| 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 |
| 前年比 | 0.0% | 3.8% | 1.2% | 4.1% | 2.1% | 7.5% | -0.6% | 4.6% | 2.6% | 7.2% |
| 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 |
| 前年比 | -1.0% | 2.4% | -4.2% | 2.2% | 0.9% | 5.7% | -2.3% | 3.3% | 1.2% | 4.6% |
| | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 |
| 国内医療用医薬品 | 8,873,623 | 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 |
| 前年比 | 0.2% | 6.9% | 0.7% | 3.1% | 1.4% | 6.2% | 0.2% | -1.0% | -1.7% | 2.8% |
| 制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤 | 429,890 | 434,997 | 408,604 | 418,289 | 397,394 | 389,788 | 376,365 | 377,550 | 349,783 | 351,329 |
| 前年比 | -3.8% | 1.2% | -6.1% | 2.4% | -5.0% | -1.9% | -3.4% | 0.3% | -7.4% | 0.4% |
| | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 | 2024 | | | | | |
| 国内医療用医薬品 | 10,371,733 | 10,599,031 | 10,939,481 | 11,280,631 | 11,503,713 | | | | | |
| 前年比 | -2.4% | 2.2% | 3.2% | 3.1% | 2.0% | | | | | |
| 制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤 | 347,142 | 351,640 | 331,675 | 278,425 | - | | | | | |
| 前年比 | -1.2% | 1.3% | -5.7% | -16.1% | - | | | | | |

出所：IQVIA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）。

一方、医薬品の流過程では、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ると考えられ、段階的に引き下げられる仕組みである。2024年4月の薬価改定までの過去5回では、医療費ベースで平均1.18%、薬剤費ベースで平均5.51%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、医療費ベースでマイナス1.35%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たとされている。

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た。

2024年4月に行われた薬価改定は、医療費ベースでマイナス0.97%の改定率、薬剤費ベースでは4.67%の引き下げとなり、120,000百万円の医療費削減効果が期待されている。2024年度の改訂では、ドラッグ・ラグおよびドラッグ・ロスの解消と安定供給の確保に向けた薬価制度の見直しが行われた。日本への早期導入に関する評価や、新薬創出等加算、有用性系加算、小児用薬品の開発促進、市場拡大再算定について、企業指標の廃止や評価項目を増やすなど、加算の適用方法を見直した。また、安定供給の確保のため、不採算品の再算定や、後発品の供給体制の評価を薬価に反映するなど、全面的に薬価基準を改定した。

3回目の中間年改訂となる2025年の薬価改定は、過去2回の中間年改訂と違い、改定の対象範囲が医薬品のカテゴリーごとに設定された。過去2回は平均乖離率の0.625倍を超える品目が一律に対象となったが、今回は新薬創出加算対象品目、新薬創出加算対象外の新薬、長期収載品、後発医薬品、その他の5つに分けており、長期収載品以外は緩和された一方、長期収載品は対象が広がった。全医薬品の53%にあたる9,320品目が改訂対象となり、246,600百万円の医療費削減効果が期待されている。対象品目の減少や乖離率の縮小により、医療費削減額は過去2回の中間年改訂を下回ることになる。

薬価改定率と平均乖離率の推移

| (年度) | 1994 | 1996 | 1998 | 2000 | 2002 | 2004 | 2006 | 2008 | 2010 | 2012 |
|-------------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|
| 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% | -6.00% |
| 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% | -1.26% |
| 平均乖離率 | 17.8% | 13.1% | 9.5% | 7.1% | 6.3% | 8.0% | 6.9% | 8.4% | 8.4% | 8.2% |
| (年度) | 2014 | 2016 | 2018 | 2019 | 2020 | 2022 | 2023 | 2024 | 2025 | |
| 改定率（薬剤費ベース） | -5.64% | -5.57% | -7.48% | -4.35% | -4.38% | -6.69% | -4.00% | -4.67% | -4.02% | |
| 改定率（医療費ベース） | -1.22% | -1.22% | -1.65% | -0.93% | -0.99% | -1.35% | -0.83% | -0.97% | -0.86% | |
| 平均乖離率 | 8.8% | 9.1% | 7.2% | 8.0% | 8.0% | 7.0% | 6.0% | 5.2% | 4.8% | |

出所：厚生労働省「薬価改定の推移」よりSR社作成

* 2019年度の数値は消費税改定を含む

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、2024年における世界のペット用医薬品市場規模は約43.3十億米ドル（約6.5兆円、1米ドル150.0円換算）であった。また、2025年には約46.3十億米ドル（約6.9兆円、同）、2032年には78.9十億米ドル（約11.8兆円、同）に達し、年平均成長率（CAGR）は約6.1%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犬は522百万匹、猫は445百万匹に達していると推定され、ペット用医薬品市場は成長が続いている。ペット用医薬品の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る。

世界各国の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

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、経口医薬品の創出が非常に困難となるなどのデメリットもある。2024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64.0%と、依然として低分子医薬品の方が多い。

米国FDAの承認件数

| | 1995 | 1996 | 1997 | 1998 | 1999 | 2000 | 2001 | 2002 | 2003 | 2004 | 2005 | 2006 | 2007 | 2008 | 2009 |
|--------------------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|
| 新規有効成分含有医薬品 (NMEs) | 28 | 47 | 34 | 25 | 33 | 25 | 19 | 11 | 15 | 31 | 18 | 18 | 16 | 21 | 20 |
| 構成比 | 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% | 87.5% | 76.9% |
| 生物学的製剤 (BLAs) | 1 | 6 | 5 | 5 | 2 | 2 | 5 | 6 | 6 | 5 | 2 | 4 | 2 | 3 | 6 |
| 構成比 | 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% | 12.5% | 23.1% |
| | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 | 2024 |
| 新規有効成分含有医薬品 (NMEs) | 15 | 24 | 33 | 25 | 30 | 33 | 15 | 34 | 42 | 38 | 40 | 36 | 22 | 34 | 32 |
| 構成比 | 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% | 61.8% | 64.0% |
| 生物学的製剤 (BLAs) | 6 | 6 | 6 | 2 | 11 | 12 | 7 | 12 | 17 | 10 | 13 | 14 | 15 | 21 | 18 |
| 構成比 | 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% | 38.2% | 36.0% |

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

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。同社は創薬シーズとイオンチャン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 |
|--------------------|--------------------------------|------------------------------------|
| 創業基盤技術型（プラットフォーム型） | 創業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 ソーせいグループ |
| 創業パイプライン型（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 | 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

*創業パイプライン型は、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。

創業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 | ラクオリア創業 | 3,108 | -6.9% | -8.5% | 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 | 23,612 | 5.9% | 3.1% | 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 | ネクセラファーマ (旧ソーせいグループ) | 28,835 | -18.8% | -7.2% | 膜タンパクGPCRを標的とした創薬を行うベンチャー企業。買収した英ヘプタレス社が事業の柱。スイスのイドルシア社から日本とAPAC地域（中国を除く）における医薬品事業を買収し、後期治験・製造販売も行う |
| 4571 | NANO MRNA (旧ナノキャリア) | 136 | -637.9% | -20.4% | 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 | 636 | -326.3% | -68.6% | 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 | 2,453 | -158.1% | -70.9% | 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 | 46,677 | 45.2% | 30.9% | 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。海外製薬大手との提携多数。買収で放射性医薬品に参入 |
| 4597 | ソレイジア・ファーマ | 316 | -615.7% | -128.1% | 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。導入した候補品を開発後に権利再導出、製品販売を行う。ファブレスで海外企業に製造委託 |
| 4883 | モダリス | 0 | - | -54.0% | 切ら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) | ラクオリア創業 (4579) | | | GNIグループ (2160) | | | ネクセラファーマ (4565) | | |
|----------------|------------------|---------|---------|--------------------|---------|---------|-----------------|---------|---------|
| | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 |
| 売上収益・売上高 | 2,918 | 1,901 | 3,108 | 17,419 | 26,011 | 23,612 | 15,569 | 12,766 | 28,835 |
| 売上総利益 | 2,686 | 1,670 | 2,482 | 14,745 | 22,431 | 18,037 | 14,643 | 9,664 | 21,219 |
| 研究開発費 | 1,249 | 1,373 | 1,704 | 2,545 | 2,558 | 2,812 | 7,454 | 10,075 | 11,816 |
| 販管費 (研究開発費を除く) | 572 | 621 | 991 | 10,966 | 15,293 | 15,772 | 4,377 | 9,965 | 16,015 |
| 営業利益 | 866 | -337 | -213 | 1,378 | 13,109 | 1,402 | 3,436 | -9,526 | -5,423 |
| 税引前利益・経常利益 | 904 | -293 | -362 | 768 | 12,613 | 238 | 645 | -10,680 | -4,662 |
| 当期利益・当期純利益 | 723 | -324 | -495 | -868 | 9,504 | -10 | 382 | -7,193 | -4,838 |
| 株主資本利益率 | 14.1% | -5.6% | -8.5% | 2.0% | 29.6% | 3.1% | 0.7% | -11.5% | -7.2% |
| 総資産経常利益率 | 15.7% | -4.5% | -4.4% | 2.4% | 26.2% | 0.4% | 1.1% | -8.3% | -3.0% |
| 営業利益率 | 29.7% | -17.7% | -6.9% | 7.9% | 50.4% | 5.9% | 22.1% | -74.6% | -18.8% |
| 総資産 | 6,258 | 6,872 | 9,655 | 33,907 | 63,394 | 71,943 | 99,417 | 157,198 | 151,498 |
| 純資産 | 5,497 | 6,120 | 5,571 | 19,811 | 36,053 | 39,714 | 57,936 | 66,810 | 68,518 |
| 株主資本比率 | 87.7% | 88.7% | 57.4% | 61.8% | 54.2% | 50.7% | 58.3% | 42.5% | 45.2% |
| 営業CF | 1,480 | -719 | 181 | 393 | 6,549 | -3,164 | 9,952 | -5,273 | -7,718 |
| 投資CF | -48 | -135 | -3,666 | -4,116 | -9,843 | -10,361 | 1,043 | -63,791 | -4,763 |
| 財務CF | -30 | 793 | 2,982 | -646 | 10,687 | 694 | -4,887 | 48,329 | -6,854 |
| 現預金 | 3,675 | 3,715 | 3,340 | 11,049 | 21,633 | 10,115 | 66,557 | 49,065 | 32,268 |
| 有利子負債 | 222 | 368 | 3,452 | 537 | 3,699 | 7,206 | 1,753 | 73,973 | 67,900 |
| ネットデット | -3,453 | -3,347 | 112 | -10,512 | -17,934 | -2,909 | -64,804 | 24,908 | 35,632 |
| | NANO MRNA (4571) | | | カルナバイオサイエンス (4572) | | | シンバイオ (4582) | | |
| | 22年3月期 | 23年3月期 | 24年3月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 |
| 売上収益・売上高 | 264 | 202 | 136 | 1,387 | 1,626 | 636 | 10,008 | 5,590 | 2,453 |
| 売上総利益 | 223 | 160 | 111 | 1,215 | 1,451 | 466 | 7,600 | 4,411 | 1,873 |
| 研究開発費 | 1,924 | 1,121 | 647 | 1,882 | 1,903 | 1,886 | 2,555 | 2,638 | 3,379 |
| 販管費 (研究開発費を除く) | 360 | 285 | 328 | 2,485 | 2,568 | 2,542 | 5,636 | 5,223 | 2,371 |
| 営業利益 | -2,061 | -1,246 | -864 | -1,270 | -1,117 | -2,076 | 1,964 | -812 | -3,877 |
| 税引前利益・経常利益 | -1,925 | -1,105 | -750 | -1,279 | -1,126 | -2,081 | 2,000 | -736 | -3,690 |
| 当期利益・当期純利益 | -1,882 | -1,311 | -780 | -1,350 | -1,153 | -2,179 | 1,179 | -1,963 | -3,833 |
| 株主資本利益率 | -29.1% | -27.0% | -20.4% | -34.0% | -30.7% | -68.6% | 14.6% | -26.1% | -70.9% |
| 総資産経常利益率 | -25.7% | -17.0% | -13.8% | -26.4% | -26.1% | -58.4% | 19.2% | -7.9% | -56.2% |
| 営業利益率 | -780.6% | -616.3% | -637.9% | -91.6% | -68.7% | -326.3% | 19.6% | -14.5% | -158.1% |
| 総資産 | 7,136 | 5,784 | 5,071 | 4,266 | 4,350 | 2,772 | 10,433 | 8,170 | 4,968 |
| 純資産 | 5,567 | 4,253 | 3,421 | 3,642 | 3,878 | 2,475 | 8,506 | 7,210 | 4,198 |

| | | | | | | | | | |
|----------------|----------------|---------|---------|-------------------|---------|---------|-------------|---------|---------|
| 株主資本比率 | 77.6% | 73.5% | 67.2% | 85.0% | 89.1% | 89.3% | 77.6% | 84.9% | 78.1% |
| 営業CF | -1,753 | -1,087 | -585 | -708 | -1,677 | -1,375 | 1,614 | -195 | -3,417 |
| 投資CF | -244 | 1,208 | 793 | -126 | -11 | -13 | -47 | -377 | -4 |
| 財務CF | 1,146 | 0 | 4 | 367 | 1,182 | 567 | 628 | 680 | 708 |
| 現預金 | 3,545 | 2,812 | 2,078 | 3,379 | 2,889 | 2,108 | 6,283 | 6,517 | 3,964 |
| 有利子負債 | 1,150 | 0 | 0 | 300 | 183 | 61 | 0 | 0 | 0 |
| ネットデット | -2,395 | -2,812 | -2,078 | -3,079 | -2,706 | -2,047 | -6,283 | -6,517 | -3,964 |
| | ベプチドリーム (4587) | | | ソレイジア・ファーマ (4597) | | | モダリス (4883) | | |
| | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24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 |
| 売上収益・売上高 | 26,852 | 28,712 | 46,677 | 1,092 | 617 | 316 | 41 | 0 | 0 |
| 売上総利益 | 18,113 | 17,218 | 34,504 | 662 | 337 | 185 | - | - | - |
| 研究開発費 | 2,915 | 3,155 | 4,003 | 883 | 403 | 414 | 1,862 | 2,103 | 1,092 |
| 販管費 (研究開発費を除く) | 6,218 | 7,256 | 9,110 | 2,250 | 1,073 | 1,721 | 242 | 268 | 245 |
| 営業利益 | 8,980 | 6,773 | 21,114 | -2,470 | -1,139 | -1,951 | -2,063 | -2,371 | -1,338 |
| 税引前利益・経常利益 | 6,653 | 4,353 | 20,889 | -2,492 | -1,135 | -1,961 | -1,996 | -2,352 | -1,303 |
| 当期利益・当期純利益 | 7,554 | 3,036 | 15,015 | -2,548 | -1,112 | -1,941 | -2,703 | -2,392 | -1,318 |
| 株主資本利益率 | 26.3% | 8.4% | 30.9% | -97.1% | -49.0% | -128.1% | -63.8% | -111.9% | -54.0% |
| 総資産経常利益率 | 14.6% | 6.5% | 25.8% | -79.4% | -42.3% | -109.2% | -43.4% | -91.2% | -45.6% |
| 営業利益率 | 33.4% | 23.6% | 45.2% | -226.1% | -184.6% | -615.7% | -5094.3% | - | - |
| 総資産 | 63,865 | 69,464 | 92,770 | 3,134 | 2,229 | 1,362 | 3,130 | 2,026 | 3,692 |
| 純資産 | 32,041 | 40,350 | 56,762 | 2,662 | 1,875 | 1,156 | 2,941 | 1,380 | 3,548 |
| 株主資本比率 | 50.2% | 58.1% | 61.2% | 84.9% | 84.1% | 84.9% | 93.4% | 66.8% | 95.5% |
| 営業CF | -83 | 12,421 | 23,845 | -2,074 | -359 | -1,033 | -1,896 | -2,254 | -1,432 |
| 投資CF | -27,377 | 1,303 | 8,371 | -418 | 0 | 0 | -186 | -40 | -188 |
| 財務CF | 20,789 | 264 | -2,995 | 2,571 | 275 | 1,180 | 64 | 1,216 | 3,045 |
| 現預金 | 5,248 | 19,508 | 48,118 | 803 | 728 | 886 | 2,933 | 1,883 | 3,575 |
| 有利子負債 | 21,048 | 22,221 | 20,154 | 37 | 33 | 25 | 0 | 413 | 0 |
| ネットデット | 15,801 | 2,713 | -27,964 | -766 | -695 | -861 | -2,933 | -1,471 | -3,575 |

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)

イオンチャンネル創薬で培った、製薬企業基準の研究プロセスに基づく高度な低分子創薬基盤を有すること

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（従業員による企業買収）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、細胞の内外へイオンを通過させる膜タンパク質である。心臓や脳など生命活動の根幹を担う臓器にも広く発現し、その種類は100種類以上存在する。種類によって通過できるイオンが決まっており、細胞機能の維持や多様な生理現象に深く関与している。イオンチャンネルの制御により幅広い疾患の治療が期待できる一方で、選択的な遮断を行わないと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。このように化合物のデザインと、それを評価するスクリーニングを常に行える体制が必要とされることから創薬の難易度が極めて高く、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、参入企業が少ないニッチな領域となるため、同分野で5つものライセンス導出実績を持つ企業は世界でも同社以外にはない。

同社は2025年12月期末現在、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13本などの豊富な開発パイプラインを有している。さらに近年では、難易度の高い標的を攻略してきた高度な低分子創薬ノウハウを強固な基盤として、子会社ファイメクス社が有する標的タンパク質分解誘導剤（TPD）技術や、mRNAを標的とする低分子医薬品（Veritas In Silico社との共同研究）などへと研究領域を大きく拡張し、従来の枠を超えた次世代創薬企業に進化している。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しっかりと裏付けられている、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。

直近では、主力品であるテゴプラザンの韓国物質特許を巡る後発品メーカー等との係争において、2025年11月に大法院（最高裁）がジェネリックメーカーの上告を棄却し、同社の全件勝訴が確定した。これにより、2031年までの独占販売権を確立するなど、知財戦略の成果が業績の安定に直結している。

子会社ファイメクス社が有する独自のTPD（標的タンパク質分解誘導剤）創薬プラットフォーム「RaPPIDS™」による高い創出力

同社は、子会社であるファイメクス社を通じて、次世代の創薬モダリティとして世界的に注目を集める標的タンパク質分解誘導剤（TPD）の領域において強力な競争優位性を有している。ファイメクス社は、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術である「RaPPIDS（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）」を保有している。このシステムは、自動合成技術により週に1,500もの化合物を迅速に合成し、標的タンパク質の分解を直接検出するハイスループット評価系を備えており、極めて高い生産性を誇る。

TPDは分子が大きくなりやすく、経口投与に向かないことが大きな欠点とされているが、ファイメクス社は経口投与可能なTPDを生み出しており、この課題解決に資する専門的なノウハウを持っている。さらに、実験に基づくアプローチにより、特定のE3リガーゼにとどまらず、これまで知られていない新規かつ最適なE3結合分子（バインダー）を同定することができており、実際にオリジナルの新規E3結合分子を複数同定済みである。

この圧倒的なスピードと技術力は、メガファーマからも高く評価されている。アステラス製薬社との共同研究においては、特定のプログラムであらかじめ定められた共同研究計画を完了し、次の研究段階に進むことが決定して200百万円の一時金を受領した。加えて、新たに2つの標的を追加することで合意し、さらに400百万円の一時金を受領するなど、連結業績に寄与している。ファイメクス社は、多様な疾患ターゲットに対して連続的に新薬候補を生み出し、同社グループのハイブリッド型ビジネスモデルを牽引する強力なエンジンとして機能している、とSR社は考える。

弱み（Weaknesses）

創薬モダリティ（創薬手法）の偏りによる収益成長の制約

低分子医薬は化学構造式が明確であり、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抑えやすい。一方、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などを有効成分とし、細胞、酵母、細菌などを用いた製造プロセスに依存するため、分子が大きく構造が複雑であり、製造工程や品質特性の管理の難易度が高いとされる。その結果、薬価水準が高く設定される傾向にあり、市場規模も相対的に大きくなるケースが多い。

同社は2025年12月期末現在、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13本を含む豊富な開発パイプラインを有しているが、その大半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中、低分子医薬は創薬プロセスの確立度が高い半面、1つの開発候補化合物の創出に長期間（72カ月程度）を要するなど、時

間とコストの両面で負担が大きい。また、バイオ医薬品と比較すると、標的の広がりや市場規模の観点で制約が生じる可能性がある。

同社はこうした状況を踏まえ、低分子創薬を基盤としつつ新規モダリティ創薬への展開を進め、既存技術と新技術の相乗効果を図っている。2028年12月期までの中期経営計画では、ファイメクス社の子会社化やVIS社およびSTAND社との共同研究を通じ、低分子創薬技術の拡張や新規モダリティ創薬への取り組みを強化する方針である。これらの新規モダリティは低分子の派生型として位置付けられており、製造工程や品質管理の面では従来の低分子医薬と類似性を有する一方、基盤技術の確立には一定の時間を要する段階にある、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提携先の開発進捗や事業戦略に依存し、収益化時期の不確実性が中長期の業績見通しを低下させていること

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。自社販売網を持たない同社の収益は、提携先の開発・販売戦略に大きく依存する。これは創薬ベンチャー全般に共通する課題ではあるが、同社においては、主力パイプラインの大型収益化において、たびたび想定以上の時間がかかっている点が顕在している。

例えば、韓国などで好調に推移しているテゴプラザンの日本市場への導出においては、長年にわたり国内の提携先を模索したものの、最終的に2025年12月に既存パートナーであるHKイノエン社に日本の独占的開発・製造・販売権を許諾する形へと変更された。この契約において、日本権利に係る契約一時金は発生しておらず、HKイノエン社が日本国内で後期臨床試験を実施した後にサブライセンス先からの収益を得て、その一部を同社が受領するスキームとなった。そのため、日本市場からの本格的な収益寄与は2030年以降という、長期間の取り組みになる見通しである。

また、米国においても、提携先により2027年初頭のテゴプラザンの承認が見込まれているものの、初年度の処方制限などの影響から、同社の業績にロイヤルティとして本格的に寄与し始めるのは2028年になるなど、事業の進展と同社へのキャッシュインに大きなタイムラグが生じている。

同社は現在、連結全体で年間約2,400～2,500百万円の研究開発費を投じる高いバーンレートを維持している。同社も2026年12月期の期初予想において、契約一時金は極めて保守的に見ざるを得ないとしており、収益計上のタイミングを自社でコントロールできない不確実性の高さは、多額の先行投資を維持する同社のキャッシュフロー管理において構造的な弱みとなっている。

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、博士人材の採用により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やがん、さらにはHKイノエン社との共同研究を通じた代謝・内分泌疾患に領域を広げること、各専門領域の研究を行ってきた人材の確保が必要となる。

文部科学省の「学校基本調査」などによると、大学院博士課程（標準5年間）の入学者数は、2003年度をピークに減少傾向が続いていたが、2015年度を底に微増傾向となった。2024年度の入学者数は15,744人となり、2年連続で増加して持ち直しの兆しを見せている。また、博士課程入学者のうち社会人の割合は、2003年度の約20%から2024年度には約40%へと増加した。科学技術・学術政策研究所の調査でも、社会人博士課程在籍者のうち、保健系（医学、歯学、薬学など）専攻が全体の約60%を占めており、前年と比べて増加傾向にあることが確認されている。

しかしながら、バイオ創薬は依然として海外が主流であり、国内の研究者は数少ない。科学技術・学術政策研究所の「科学技術指標2024」によれば、各国の最新年度において、博士号取得者数が最も多いのは米国（95千人）であり、中国（82千人）、ドイツ（28千人）と続く。日本国内においても社会人博士などを中心に高度人材の育成が進みつつあるものの、グローバルで見ればその数は限られている。同社が拡大する開発ニーズにマッチした専門研究者をいかに確保し育成できるかが、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) | 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 | 24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 | 146 | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 3,108 |
| 前年比 | -5.5% | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.7% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 63.5% |
| 売上総利益 | 146 | 588 | 1,270 | 655 | 1,440 | 969 | 2,456 | 2,686 | 1,656 | 2,482 |
| 前年比 | -3.9% | 303.9% | 116.1% | -48.4% | 119.8% | -32.7% | 153.3% | 9.4% | -38.4% | 49.9% |
| 売上総利益率 | 100.0% | 83.3% | 89.5% | 88.0% | 84.6% | 87.5% | 88.4% | 92.1% | 87.1% | 79.9% |
| 事業費用 | 2,010 | 1,465 | 1,570 | 1,820 | 1,719 | 1,593 | 2,068 | 2,052 | 2,239 | 3,321 |
| 前年比 | -11.7% | -27.1% | 7.1% | 15.9% | -5.5% | -7.3% | 29.8% | -0.8% | 9.1% | 48.4% |
| 売上原価 | - | 118 | 150 | 89 | 263 | 138 | 321 | 232 | 245 | 626 |
| 前年比 | - | - | 27.1% | -40.2% | 193.9% | -47.5% | 132.4% | -27.8% | 5.8% | 155.4% |
| 研究開発費 | 1,302 | 796 | 849 | 1,075 | 864 | 932 | 1,127 | 1,249 | 1,373 | 1,704 |
| 前年比 | -12.0% | -38.9% | 6.6% | 26.6% | -19.6% | 7.9% | 20.9% | 10.8% | 9.9% | 24.1% |
| 研究開発費比率 | 895.2% | 112.9% | 59.8% | 144.3% | 50.7% | 84.2% | 40.6% | 42.8% | 72.2% | 54.8% |
| 販売費及び一般管理費 | 708 | 551 | 572 | 656 | 592 | 523 | 620 | 572 | 621 | 991 |
| 前年比 | -10.9% | -22.1% | 3.7% | 14.7% | -9.7% | -11.6% | 18.6% | -7.9% | 8.6% | 59.6% |
| 販管費比率 | 486.4% | 78.2% | 40.3% | 88.1% | 34.8% | 47.2% | 22.3% | 19.6% | 32.7% | 31.9% |
| 営業利益 | -1,865 | -760 | -150 | -1,075 | -16 | -486 | 708 | 866 | -337 | -213 |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | 22.4% | - | - |
| 営業利益率 | - | - | - | - | - | - | 25.5% | 29.7% | - | - |
| 営業外収益 | 99 | 94 | 85 | 45 | 49 | 35 | 177 | 77 | 88 | 68 |
| 受取利息 | 4 | 13 | 4 | 9 | 9 | 4 | 2 | 1 | 3 | 5 |
| 有価証券利息 | 78 | 52 | 35 | 32 | 35 | 28 | 21 | 13 | 7 | 3 |
| 為替差益 | 14 | - | 1 | - | - | - | 146 | 44 | 52 | 39 |
| 複合金融商品評価益 | - | 8 | - | - | 4 | 1 | 0 | - | 3 | - |
| 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 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| その他 | 1 | 2 | 1 | 3 | 1 | 1 | 3 | 6 | - | - |
| 営業外費用 | 29 | 55 | 85 | 35 | 12 | 76 | 21 | 39 | 44 | 216 |
| 支払利息 | - | - | - | - | - | 0 | 1 | 6 | 7 | 43 |
| コミットメントフィー | - | - | - | - | - | - | - | 6 | 9 | 7 |
| 為替差損 | - | 55 | - | 33 | 0 | 76 | - | - | - | - |
| シンジケートローン手数料 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | 141 |
| 株式交付費 | 6 | - | 13 | 1 | 12 | 0 | 0 | 16 | 4 | 1 |
| デリバティブ評価損 | - | - | - | - | - | - | 10 | - | 25 | 22 |
| 和解金 | - | - | - | - | - | - | 10 | - | - | - |
| 複合金融商品評価損 | 21 | - | 2 | 1 | - | - | - | 11 | - | 2 |
| 有価証券償還損 | 2 | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| その他 | - | - | 0 | - | - | - | - | - | - | - |
| 経常利益 | -1,795 | -721 | -81 | -1,065 | 22 | -528 | 864 | 904 | -293 | -362 |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | 4.7% | - | - |
| 経常利益率 | - | - | - | - | 1.3% | - | 31.1% | 31.0% | - | - |
| 特別利益 | 66 | - | 21 | 5 | 6 | 9 | 17 | 14 | - | 9 |
| 固定資産売却益 | - | - | - | - | - | 1 | - | - | - | - |
| 投資有価証券売却益 | 66 | - | 18 | 5 | 6 | 8 | 14 | 10 | - | 9 |
| 投資有価証券償還益 | - | - | - | - | - | - | 2 | 4 | - | - |
| 特別損失 | 119 | 2 | 0 | 18 | - | 9 | - | 68 | 1 | 6 |
| 減損損失 | - | - | - | - | - | 3 | - | - | - | - |
| 投資有価証券売却損 | - | - | 0 | - | - | 0 | - | - | - | 6 |
| 投資有価証券償還損 | 6 | 2 | - | - | - | 7 | - | 50 | 1 | - |
| 役員退職慰労金 | - | - | - | - | - | - | - | 18 | - | - |
| 特別退職金 | 69 | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 事務所移転費用 | 43 | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 賃貸借契約解約損 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| その他 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 法人税等 | 6 | 5 | -2 | 26 | 22 | 79 | 125 | 128 | 30 | 137 |
| 税率 | -0.3% | -0.7% | 2.9% | -2.4% | 80.4% | -15.0% | 14.2% | 15.0% | -10.1% | -38.4% |
| 親会社株主に帰属する当期純利益 | -1,854 | -728 | -58 | -1,105 | 5 | -607 | 756 | 723 | -324 | -495 |
| 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) | 15年12月期 連結 | 16年12月期 連結 | 17年12月期 連結 | 18年12月期 連結 | 19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 | 23年12月期 連結 | 24年12月期 連結 |
|-------------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|---------------|
| 資産 | | | | | | | | | | |
| 現金及び預金 | 1,840 | 1,428 | 2,268 | 1,671 | 2,174 | 1,394 | 2,345 | 3,675 | 3,715 | 3,340 |
| 受取手形及び売掛金 | 73 | 58 | 449 | 1 | 747 | 531 | 1,205 | 602 | 603 | 689 |
| 有価証券 | 503 | 9 | 329 | 168 | 26 | 719 | 314 | 251 | 50 | 2 |
| たな卸資産 | 7 | 7 | 5 | 6 | 6 | 7 | 11 | 9 | 148 | 168 |
| 前渡金 | 179 | 205 | 190 | 9 | 6 | 36 | 16 | 90 | 67 | 27 |
| 前払費用 | 65 | 56 | 62 | 72 | 69 | 50 | 90 | 109 | 188 | 194 |
| その他 | 40 | 43 | 20 | 35 | 39 | 97 | 22 | 87 | 186 | 120 |
| 流動資産合計 | 2,708 | 1,806 | 3,322 | 1,962 | 3,067 | 2,834 | 4,004 | 4,822 | 4,957 | 4,539 |
| 建物及び構築物 | 140 | 141 | 142 | 143 | 143 | 153 | 154 | 154 | 158 | 159 |
| 工具、器具及び備品 | 394 | 452 | 488 | 677 | 742 | 872 | 944 | 964 | 1,125 | 1,371 |
| リース資産 | | | | 3 | 3 | 49 | 60 | 255 | 398 | 434 |
| 減価償却累計額 | -273 | -344 | -415 | -505 | -639 | -741 | -859 | -982 | -1,107 | -1,435 |
| 有形固定資産合計 | 261 | 249 | 216 | 318 | 249 | 333 | 299 | 391 | 574 | 529 |
| 商標権 | 2 | 6 | 5 | 5 | 5 | 4 | 4 | 4 | 5 | 4 |
| ソフトウェア | 8 | 7 | 4 | 28 | 27 | 28 | 29 | 20 | 26 | 33 |
| のれん | | | | | | | | | | 3,865 |
| その他 | 4 | 0 | - | 1 | 1 | 1 | 1 | 0 | 0 | 0 |
| 無形固定資産合計 | 14 | 13 | 10 | 34 | 32 | 33 | 34 | 24 | 30 | 3,902 |
| 投資有価証券 | 1,752 | 1,937 | 1,503 | 1,717 | 1,474 | 1,038 | 888 | 988 | 1,231 | 547 |
| 長期前払費用 | 5 | 3 | 2 | 10 | 2 | 0 | 0 | 24 | 64 | 15 |
| 繰延税金資産 | | | | | | 3 | - | | 6 | 78 |
| その他 | 12 | 11 | 11 | 12 | 12 | 10 | 9 | 8 | 11 | 45 |
| 投資その他の資産合計 | 1,769 | 1,951 | 1,516 | 1,738 | 1,488 | 1,051 | 897 | 1,020 | 1,311 | 685 |
| 固定資産合計 | 2,044 | 2,213 | 1,742 | 2,090 | 1,769 | 1,417 | 1,230 | 1,436 | 1,915 | 5,117 |
| 資産合計 | 4,752 | 4,019 | 5,064 | 4,052 | 4,837 | 4,251 | 5,234 | 6,258 | 6,872 | 9,655 |
| 負債 | | | | | | | | | | |
| 支払手形及び買掛金 | | | 2 | | 34 | 42 | 46 | 128 | 54 | 59 |
| 短期有利子負債 | - | - | - | 1 | 1 | 18 | 22 | 46 | 77 | 582 |
| 未払金 | 123 | 126 | 63 | 99 | 67 | 53 | 113 | 206 | 159 | 194 |
| 未払費用 | 57 | 40 | 44 | 48 | 50 | 50 | 63 | 60 | 54 | 69 |
| 未払法人税等 | 15 | 1 | 21 | 14 | 20 | 21 | 80 | 31 | 20 | 28 |
| 未払消費税等 | | | 14 | | | - | 37 | | | |
| 繰延税金負債 | | 1 | | | | | | | | 186 |
| 前受金 | | 14 | 1 | | 7 | | | | | |
| 預り金 | 5 | 3 | 4 | 3 | 3 | 3 | 29 | 19 | 4 | 19 |
| その他 | - | 5 | - | - | - | - | 10 | 4 | 22 | 50 |
| 流動負債合計 | 200 | 190 | 149 | 164 | 183 | 187 | 401 | 494 | 389 | 1,187 |
| 長期有利子負債 | - | - | - | 2 | 2 | 27 | 18 | 177 | 291 | 2,870 |
| 資産除去債務 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 15 |
| 繰延税金負債 | 26 | 29 | 16 | 16 | 19 | 14 | 16 | 3 | - | |
| その他 | - | - | - | - | - | - | - | 75 | 59 | 13 |
| 固定負債合計 | 38 | 41 | 27 | 31 | 33 | 53 | 46 | 267 | 362 | 2,897 |
| 負債合計 | 238 | 231 | 176 | 195 | 216 | 240 | 446 | 761 | 752 | 4,085 |
| 純資産 | | | | | | | | | | |
| 資本金 | 9,806 | 2,238 | 2,741 | 2,793 | 2,255 | 2,255 | 2,257 | 2,266 | 2,668 | 2,721 |
| 資本剰余金 | 5,090 | 2,238 | 2,931 | 2,983 | 2,445 | 2,445 | 2,447 | 2,455 | 2,857 | 2,910 |
| 利益剰余金 | -10,421 | -728 | -786 | -1,890 | -99 | -706 | 50 | 773 | 449 | -46 |
| 新株予約権 | 11 | 15 | 17 | 13 | 12 | 12 | 11 | 8 | 26 | 27 |
| 純資産合計 | 4,514 | 3,788 | 4,888 | 3,857 | 4,621 | 4,011 | 4,788 | 5,497 | 6,120 | 5,571 |
| 負債純資産合計 | 4,752 | 4,019 | 5,064 | 4,052 | 4,837 | 4,251 | 5,234 | 6,258 | 6,872 | 9,655 |
| 運転資金 | 80 | 65 | 452 | 7 | 718 | 496 | 1,170 | 483 | 697 | 798 |
| 有利子負債合計 | - | - | - | 3 | 2 | 46 | 39 | 222 | 368 | 3,452 |
| ネット・デット | -1,840 | -1,428 | -2,268 | -1,668 | -2,172 | -1,349 | -2,306 | -3,453 | -3,347 | 112 |

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。

2024年12月期末における総資産合計は、前期末比2,783百万円増加し、9,655百万円（前期比40.5%増）となった。これは主に、現金及び預金の減少374百万円、のれんの増加3,865百万円および投資有価証券の減少684百万円による。2024年3月のファイメクス社の完全子会社化に伴い、のれんが無形固定資産に計上された。

2024年12月期末における負債合計は、前期末比3,333百万円増加し、4,084百万円（前期比443.6%増）となった。これは主に、1年内返済予定の長期借入金の増加500百万円、契約負債の増加185百万円および長期借入金の増加2,612百万円による。

2024年12月期末における純資産合計は、前期末比549百万円減少し、5,570百万円（前期比9.0%減）となった。これは主に、第三者割当増資などに伴う資本金および資本剰余金の増加105百万円と、親会社株主に帰属する当期純損失495百万円の計上およびその他有価証券評価差額金の減少162百万円による。

以上の結果、自己資本比率は57.4%（前期比31.3%ポイント低下）となった。

キャッシュフロー計算書

| キャッシュフロー計算書 (百万円) | 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 | 24年12月期 |
|-----------------------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|
| | 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) | -2,117 | -681 | -307 | -404 | -531 | -289 | 366 | 1,480 | -719 | 181 |
| 税金等調整前当期純利益 | -1,848 | -723 | -60 | -1,078 | 27 | -528 | 881 | 851 | -294 | -358 |
| 減価償却費 | 53 | 80 | 86 | 126 | 140 | 124 | 142 | 148 | 176 | 198 |
| 減損損失 | | | | | | 3 | - | | | |
| 固定資産売却損益・処分損 | | | | | | -1 | - | | | |
| 運転資本の増減 | -51 | 15 | -377 | 445 | -711 | 223 | -674 | 687 | -214 | -78 |
| 投資活動によるキャッシュフロー(2) | 666 | -441 | 534 | -368 | 216 | 225 | -279 | -48 | -135 | -3,666 |
| 有形及び無形固定資産の取得による支出 | -200 | -37 | -88 | -221 | -94 | -156 | -105 | -32 | -222 | -116 |
| 有形及び無形固定資産の売却による収入 | | | | | | 1 | - | | | |
| FCF (1+2) | -1,451 | -1,122 | 226 | -772 | -315 | -64 | 87 | 1,432 | -854 | -3,485 |
| 財務活動によるキャッシュフロー | 1,702 | - | 1,007 | 99 | 696 | -7 | -16 | -30 | 793 | 2,982 |
| 短期借入金の純増減額 | | | | | | - | - | | | |
| 長期借入金の純増減額 | - | - | - | - | - | - | - | 12 | 40 | 2,970 |
| 社債の発行と償還の合計 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 新株予約権の行使による株式の発行による収入 | 1,686 | | 996 | 100 | 692 | 0 | 2 | 4 | 4 | 0 |
| 新株予約権の発行による収入 | 15 | | 11 | | 4 | | | | 783 | 80 |
| リース債務の返済による支出 | | | | -1 | -1 | -7 | -18 | -45 | -52 | -68 |
| 現金及び現金同等物の増減（は減少） | 252 | -999 | 1,229 | -644 | 371 | -139 | 179 | 1,439 | -15 | -523 |
| 現金及び現金同等物の期末残高 | 2,243 | 1,244 | 2,474 | 1,830 | 2,200 | 2,061 | 2,241 | 3,679 | 3,665 | 3,142 |

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

2024年12月期に営業活動により獲得した資金は、2023年12月期（718百万円の使用）に比べて899百万円増加し、180百万円となった。これは主に、税金等調整前当期純損失357百万円および減価償却費198百万円およびのれん償却額203百万円を計上したことのほか、前渡金の減少73百万円と未収消費税などの減少74百万円による。

投資活動によるキャッシュフロー

2024年12月期に投資活動により使用した資金は、2023年12月期（135百万円の使用）に比べて3,530百万円増加し、3,665百万円となった。これは主に、定期預金の預入による支出200百万円、定期預金の払戻による収入100百万円、投資有価証券の売却による収入258百万円、投資事業組合からの分配による収入200百万円および連結範囲の変更に伴う子会社株式の取得による支出3,879百万円による。

財務活動によるキャッシュフロー

2024年12月期に財務活動により獲得した資金は、2023年12月期（793百万円の獲得）に比べて2,189百万円増加し、2,982百万円となった。これは主に、長期借入れによる収入3,357百万円、長期借入金の返済による支出387百万円、株式発行による収入79百万円およびリース債務の返済による支出68百万円による。

過去の業績

2025年12月期第3四半期累計期間実績（2025年11月14日発表）

業績概要

2025年12月期第3四半期（2025年1月～9月）累計期間実績

- 事業収益：2,311百万円（前年同期比2.5%減）
- 営業損失：345百万円（前年同期は27百万円の損失）
- 経常損失：427百万円（同231百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：569百万円（同340百万円の損失）
- 研究開発費：1,237百万円（前年同期比1.5%減）

2025年12月期第3四半期の業績は前年同期比2.5%の減収となり、営業赤字が継続した。通期業績予想に対する第3四半期末時点における進捗率は、事業収益59.4%となった。営業損益以下の各段階損益は損失であったため、進捗率は記載していない。同社によれば、損失計上は想定内であり、ほぼ計画通りに進捗している。

当第3四半期累計期間における収益および費用の状況

当第3四半期累計期間において、上市品4製品からのロイヤルティ収入が順調に伸長した。また、テゴプラザンのグローバル展開に伴い、関連するロイヤルティ収入も拡大した。ロイヤルティ収入は、1,703百万円（前年同期比14.1%増）となった。特に中国市場からのロイヤルティ収入は、前年同期比で大幅に増加した。同社はこの中国市場での伸長を一過性のものではなく、構造的な需要増によるものとみている。

一方、契約一時金・マイルストーン・研究協力金を含むその他収益は、607百万円（同30.7%減）となった。その他収益が減収となった主因は、前年同期はフランスでEluracat™の販売開始に伴うマイルストーン収入を計上していたのに対し、当第3四半期累計期間はファイメクス社の研究協力金を中心であり、大型のマイルストーン収入がなかったことによる。

当第3四半期（2025年7月～9月）の3カ月間では、ロイヤルティ収入は630百万円（同27.3%増）となった。一方、契約一時金やマイルストーン収入はなく、その他収益は145百万円（同68.7%減）となった。なお、サブライセンス先からのロイヤルティについては、収益認識の確定に時間を要するケースがあり、当該期間における現地売上高と一致していないものが含まれている。研究協力金は研究の進捗状況に応じて変動し、四半期ベースでは概ね100～150百万円の水準で推移しているとSR社は推定する。

費用面では、事業原価が547百万円（同37.9%増）、研究開発費が1,237百万円（同1.5%減）、その他販売費及び一般管理費が872百万円（同17.1%増）となった。この結果、事業費用の総額は2,656百万円（前年同期比10.8%増）となり、営業損失は345百万円（前年同期は27百万円の損失）となった。事業原価の増加は、前期第2四半期からのファイメクス社の連結化による影響およびライセンス収入の増加に伴う外部へのロイヤルティ支払額の増加による。研究開発費は、臨床試験準備費用が第2四半期に先行して発生した影響があったが、通期計画に対しては適切にコントロールされている。

営業外収益としてデリバティブ評価益31百万円や受取利息13百万円など66百万円（前年同期比183.6%増）を計上した一方で、為替差損87百万円や支払利息45百万円など営業外費用148百万円（同35.0%減）を計上し、営業外収支はマイナスとなった。経常損失は427百万円（前年同期は231百万円の損失）、四半期純損失は569百万円（同340百万円の損失）となった。

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）、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。

ペット用医薬品によるロイヤルティ収入は、主に2021年に年間売上が10,000百万円を超えるブロックバスター製品に成長したGALLIPRANT[®]による寄与が大きい。同社によれば、GALLIPRANT[®]は依然としてピークアウトの兆候はなく、堅調に推移している。また、ペット用医薬品の上市3製品は、新たな国・地域での承認・販売が進行している。

韓国市場におけるテゴプラザンの状況

テゴプラザン（K-CAB[®]）は、韓国における売り上げが引き続き順調に推移した。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[®]」の当中間期における売り上げ（院外処方データ）は、1,608億ウォン（前年同期比13.1%増、約17,688百万円、1韓国ウォン0.11円換算）となった。韓国の消化性潰瘍治療薬市場におけるK-CAB[®]の市場シェアは15%で、引き続き第1位を維持している。

韓国市場における特許係争*（権利範囲確認審判）については、2025年11月20日に韓国大法院（最高裁）がジェネリックメーカーの上告を棄却し、同社の完全勝利が確定した。これにより、2031年までの物質特許の有効性について、司法判断が確定した。また、韓国国内では第6の適応症となるNSAID誘発性潰瘍の予防に対する第Ⅲ相臨床試験が終了しており、2025年内に韓国食品医薬品安全処（MFDS）への承認申請が予定されている。

* 同社の保有する胃酸分泌抑制剤tegoprazan（韓国販売名「K-CAB[®]錠」）の韓国物質特許（韓国特許番号：特許第1088247号）について、当該物質特許の存続期間は、医薬品などの特許権の存続期間の延長登録制度により2031年まで延長されていた。これに対して、韓国の後発品メーカー等60社以上により消極的権利範囲確認審判が請求され、延長された特許権の効力範囲について争っていた。

具体的には、韓国の後発品メーカー等は、通常の特許期間満了直後の2026年からジェネリック医薬品を発売することを目的として、K-CAB[®]錠の適応症のうち、当初承認適応症（びらん性胃食道逆流症および非びらん性胃食道逆流症）を除いた、後続承認された3つの適応症（胃潰瘍、ヘリコバクターピロリ除菌のための併用療法および維持療法）について、延長された特許権の効力は及ばないと主張し、審判を請求した。これに対し、2024年、特許審判院は同社の主張を支持し、延長された特許権の効力は後続承認の適応症にも及ぶとの判断を示した。

2025年8月、特許審判院の審決（第一審に相当）に続いて、審決取消訴訟（第二審）においても、全件勝訴判決を獲得した。これにより、2031年までのK-CAB[®]錠の独占販売権は、より強固に守られることとなった。

テゴプラザンの世界各国における展開

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いる。HKイノエン社およびHKイノエン社からライセンスまたは製品輸出を受けた世界各国の提携先企業（以下サブライセンス先企業）が、テゴプラザンの事業活動を進めている。HKイノエン社は2028年までに世界100カ国に進出し、2030年には全世界におけるテゴプラザン製品の年間売上高3兆ウォンの達成を目指しており、当第3四半期末時点で、テゴプラザンは世界54カ国に進出している。

当第3四半期累計期間において、HKイノエン社は提携先であるDr. Reddy's Laboratories（NSE DRREDDY）がインドで新たに製品販売を開始したことを発表した。インドにおける製品名は「PCAB」で、適応症は「EE」「NERD」「胃潰瘍」の3つである。インドの消化性潰瘍薬の市場規模は、2024年時点で約1兆5,200億ウォン（約167,200百万円、同）と評価されており、中国、米国、日本に次ぐ世界第4位である。

当第3四半期累計期間にはインドで販売が開始され、ほかに当第3四半期末時点でテゴプラザンが販売されているのは、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、マレーシア、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドル、パナマで、合計18カ国となった。同社はHKイノエン社を通じて、製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部をロイヤルティとして受領している。東南アジアや中南米の国々でも承認審査が進行中であるほか、ブラジル、中東地域などの国々で承認申請の準備が進められている。

米国における良好な試験結果

2025年4月、HKイノエン社のサブライセンス先の米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（以下Sebela社）の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下Braintree社）が、米国で実施中の第Ⅲ相臨床試験（以下TRIUMpH試験）について良好な試験結果を発表した。TRIUMpH試験は、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流

症)を対象とした米国第Ⅲ相臨床試験のピボタル試験として実施された。TRIUMpH試験において、テゴプラザンはEE試験とNERD試験の両方で、全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。

また、Braintree社は、TRIUMpH試験において最大8週間の初期治療で完全に治癒したEE患者を対象に維持療法の効果を検証し、EE治癒後の維持療法についても良好な試験結果が得られたと発表した。Sebela社は、EEおよびNERDを対象として、2025年12月期第4四半期に米国FDAに承認申請を提出する予定である。順調に進めば2026年末から2027年初頭に承認を取得し、2027年中に販売が開始されると想定される。同社のロイヤルティ収入への本格的な寄与は、2028年以降となる見込みである。

導出済・導出準備パイプラインの状況

P2X7受容体拮抗薬やTRPM8遮断薬、動物用医薬品5-HT4作動薬などの導出済プログラムについては、導出先およびサブライセンス先の企業において、前臨床試験開発段階以降の取り組みが進められている。

P2X7受容体拮抗薬については、リリー社が開発パイプラインから「Pain（疼痛）」領域を除外したことが確認されている。これに関して同社は、これまでの臨床試験結果を踏まえると、疼痛領域での開発再開は難しいとの認識を示している。一方、ライセンス契約自体は引き続き有効であり、リリー社内において今後の開発方針に関する検討が行われており、開発中止にはなっていない。また、TRPM8遮断薬はXgene社により第Ⅰ相臨床試験が実施されており、同社は当該試験の進捗を注視している。

導出準備プログラムについては、自社開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験を完了し、提携先の獲得に向けた事業開発活動を行っている。また、テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、当第3四半期においても導出交渉を継続している。年内の契約締結を目指す方針に、変更はない。米国での第Ⅲ相臨床試験の結果については、交渉相手によっては従前より米国での成功を前提としていたため、その事実だけで契約締結が決定づけられるわけではないという認識を同社は示している。同社は契約条件の最大化よりも、早期の市場投入を優先する方針を示しており、パートナー企業が開発費を負担する従来型のライセンスモデルに加え、共同開発などの選択肢も含めて協議を進めている（日本国内における権利は、2025年12月にHKイノエン社に導出された。詳細は後述）。

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て、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。IRAK-M分解誘導薬については、具体的な条件交渉の段階にあることが示唆された。

探索段階のプログラム

探索研究段階では、引き続き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同社は注力している。既存技術と新技術の相乗効果によって創薬バリューチェーンを強化することで、従来の技術では困難とされてきた未開拓の創薬標的（遺伝子・タンパク質など）に対する医薬品を生み出すことを重要な成長戦略とし、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、技術およびパイプラインの強化に取り組んでいる。

モダリティおよび創薬標的については、2024年3月に連結子会社としたファイメクス社を中核として、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤の研究開発を進めている。ファイメクス社は、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下アステラス製薬社）とともに、ファイメクスが保有する、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）を用いて、がんを標的疾患として複数の標的を対象とした標的タンパク質分解誘導剤の探索に取り組んでいる。

HKイノエン社との資本業務提携

同社は2025年3月21日、HKイノエン社との間で資本業務提携契約を締結し、HKイノエン社に対して第三者割当による新株式を発行した。同社はHKイノエン社に対して、同社普通株式2,592,100株（当該資金調達後の所有議決権比率10.62%）を割り当て、同年4月18日に払い込み手続きが完了した。

この提携は、HKイノエン社からの出資により財務基盤を強化するとともに、両社間での戦略的なパートナーシップの構築を目的としている。当第3四半期累計期間においては、共同研究プロジェクトの開始に向けて、試験データの取得やプロジェクト計画の立案に係る協議など、協業開始に向けた取り組みを進めた（2025年12月における提携内容拡大については後述）。

テムリック株式会社の吸収合併（簡易合併・略式合併）

同社は、コストの削減と管理業務の簡素化および効率化を実現することを目的として、子会社テムリックを消滅会社とする吸収合併を決定した。契約締結日は2025年10月17日、効力発生日は2026年1月1日の予定である。連結グループ内の吸収合併のため、連結業績への影響は軽微である。

第3四半期決算発表時点の見通し

2025年12月期連結業績予想に対する第3四半期末時点における進捗率は、事業収益59.4%となった。営業損益以下の各段階損益は損失であったため、進捗率は記載していない。ロイヤルティ収入は順調に伸長しており、2024年12月期の実績1,944百万円を超える見通しである。その他収入を積み上げ、通期目標の達成を目指している。なお、当第3四半期決算発表時点で、業績予想に変更はない。

通期計画の達成には残り1,000百万円の収入が必要とされているが、第4四半期には子会社ファイメクス社によるアステラス製薬社との契約一時金や、テゴプラザンの日本導出による収益積み上げを見込んでおり、同社は計画達成に向けて予定通り進捗しているとの認識を示している。

2025年12月期第2四半期（中間期）実績（2025年8月14日発表）

業績概要

2025年12月期第2四半期（2024年1月～6月）累計期間実績

- 事業収益：1,536百万円（前年同期比8.9%増）
- 営業損失：190百万円（前年同期は154百万円の損失）
- 経常損失：291百万円（同278百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する中間純損失：355百万円（同324百万円の損失）
- 研究開発費：782百万円（前年同期比6.1%減）

2025年12月期連結業績予想に対する第2四半期末時点における進捗率は、事業収益39.5%となった。営業損益以下の各段階損益は損失であったため、進捗率は記載していない。同社によれば、損失計上は想定内であり、ほぼ計画通りに進捗している。

増収減益の要因

当中間期は、上市品4製品からのロイヤルティ収入が増加したことに加え、テゴプラザンのグローバル展開が順調に拡大した。ロイヤルティは中間期として初めて1,000百万円を超え、1,073百万円（前年同期比7.5%増）となり、契約一時金・マイルストーン・研究協力金を含むその他収益は462百万円（同11.9%増）となった。

当第2四半期（2025年4月～6月）の3カ月間では、中国などにおけるロイヤルティが含まれていないことも影響して、ロイヤルティは第1四半期より少ない459百万円（同2.7%増）となった。また、契約一時金やマイルストーン収入はなく、その他収益は111百万円（同64.9%減）であった。なお、サブライセンス先からのロイヤルティは、収益認識の確定に時間を要するため、当該期間における現地での売上高と直結していないものも存在するが、徐々に処理期間が縮小されつつある。研究協力金は研究の進捗によって変動はあるものの、四半期ベースで概ね100～150百万円規模であるとSR社は推定する。

研究開発費は、グリーン受容体作動薬の費用がなくなり、一部の研究開発費用は事業原価に振り替えられたことで、782百万円（同6.1%減）に減少した。一方で、IRAK-M分解誘導薬（FIM-01）のGMP製造や、探索研究に係る費用は増加している。事業原価は、外部へのロイヤルティ支払も増加したことから、389百万円（同71.4%増）に拡大した。さらに、その他販売費及び一般管理費は、韓国における裁判費用*や賃上げなどに伴う人件費の増加の影響で、555百万円（同9.7%増）に増加した。この結果、事業費用の総額は1,726百万円（前年同期比10.3%増）となり、営業損失190百万円（前年同期は154百万円の損失）を計上した。

営業外収益としてデリバティブ評価益32百万円や受取利息8百万円などを計上した一方、為替差損105百万円や支払利息30百万円などを営業外費用に計上したため、営業外収支はマイナスとなった。経常損失は291百万円（同278百万円の損失）、中間純損失は355百万円（同324百万円の損失）となった。

* 同社の保有する胃酸分泌抑制剤tegoprazan（韓国販売名「K-CAB[®]錠」）の韓国物質特許（韓国特許番号：特許第1088247号）について、当該物質特許の存続期間は、医薬品などの特許権の存続期間の延長登録制度により2031年まで延長されていた。これに対して、韓国の後発品メーカー等60社以上により消極的権利範囲確認審判が請求され、延長された特許権の効力範囲について争っていた。

具体的には、韓国の後発品メーカー等は、通常の特許期間満了直後の2026年からジェネリック医薬品を発売することを目的として、K-CAB[®]錠の適応症のうち、当初承認適応症（びらん性胃食道逆流症および非びらん性胃食道逆流症）を除いた、後続承認された3つの適応症（胃潰瘍、ヘリコバクターピロリ除菌のための併用療法および維持療法）について、延長された特許権の効力は及ばないと主張し、審判を請求した。これに対し、2024年、特許審判院は同社の主張を支持し、延長された特許権の効力は後続承認の適応症にも及ぶとの判断を示した。

2025年8月、特許審判院の審決（第一審に相当）に続いて、審決取消訴訟（第二審）においても、全件勝訴判決を獲得した。これにより、2031年までのK-CAB[®]錠の独占販売権は、より強固に守られることが明確となった。一部の原告は現在、大法院（第三審）に上告し、訴訟は継続しているが、すでに先行する一部の事件において、審理不続行により上告棄却の判決が言い渡され、同社の勝訴判決が確定している。

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）、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。ペット用医薬品によるロイヤルティ収入は、主に2021年に年間売上が10,000百万円を超えるブロックバスター製品に成長したGALLIPRANT[®]による寄与が大きい。なお、ペット用医薬品の上市3製品は、新たな国・地域での承認・販売が進行している。

テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB[®]）は、韓国における売り上げが引き続き順調に推移した。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[®]」の当中間期における売り上げ（院外処方データ）は、1,047億ウォン（前年同期比14.3%増、約11,517百万円、1韓国ウォン0.11円換算）となった。2024年における韓国の抗潰瘍剤市場規模は、2019年の1.7倍の約151,000百万円に拡大した。当中間期のK-CAB[®]の市場シェアは15%で、引き続き1位を維持している。

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いる。HKイノエン社およびHKイノエン社からライセンスまたは製品輸出を受けた世界各国の提携先企業（以下サブライセンス先企業）が、テゴプラザンの事業活動を進めている。HKイノエン社は2028年までに世界100カ国に進出し、2030年には全世界におけるテゴプラザン製品の年間売上高3兆ウォンの達成を目指しており、当第2四半期末時点で、テゴプラザンは世界54カ国に進出している。

当第2四半期中にマレーシアとパナマで販売が開始され、ほかに中間期末時点でテゴプラザンが販売されているのは、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、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラ、エルサルバドルで、合計17カ国となった。同社はHKイノエン社を通じて、製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部をロイヤルティとして受領している。東南アジアや中南米の国々でも承認審査が進行中であるほか、米国やカナダなどの国々で臨床開発が進められている。2025年5月には、HKイノエン社の提携先である、Dr. Reddy's Laboratories（NSE DRREDDY）が、インド中央医薬品標準管理機構（Central Drugs Standard Control Organization：CDSCO）より販売承認を取得した。

HKイノエン社は2025年4月、Tabuk Pharmaceutical Manufacturing Company（非上場、以下Tabuk社）との間で、中東・北アフリカ地域において2024年4月に締結したライセンス契約の地域拡大契約を締結した。これにより、Tabuk社の対象地域は、エジプト、スーダン、エチオピア、モロッコ、イエメン、リビアの6カ国が追加となり、合計16カ国に拡大された。Tabuk社は中東・北アフリカ地域において強力な販売網およびマーケティング能力を有するサウジアラビアの大手製薬企業であり、同地域におけるテゴプラザンの市場浸透とさらなる拡大を同社は期待している。

また、2025年4月、HKイノエン社のサブライセンス先の米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（以下 Sebela社）の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）が、米国で実施中の第Ⅲ相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）について良好な試験結果を発表した。TRIUMpH試験は、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流症）を対象とした米国第Ⅲ相臨床試験のピボタル試験として実施されている。TRIUMpH試験において、テゴプラザンはEE試験とNERD試験の両方で、全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。Braintree社は、TRIUMpH試験のうちEE試験を2025年12月期第3四半期に完了し、EEおよびNERDの両方を適応症として、2025年12月期第4四半期に米国FDAに承認申請を提出する予定である。

中国では、サブライセンス先のLuoxin社がテゴプラザンの注射剤（LX22001）の開発を進めている。2024年8月に開始された第Ⅰ相臨床試験において健康成人への投与が実施され、順調に進行しており、2025年11月に終了が予定されている。中国は手術の際や入院中には注射剤が使用されることが多く、現在用いられているのはH2受容体拮抗薬（H2ブロッカー）やプロトンポンプ阻害剤（PPI）などで、胃酸分泌抑制剤の注射剤市場は約200,000百万円に上る。注射剤の開発に成功すれば、世界初のP-CAB注射剤となるだけでなく、現地の臨床ニーズに合致した剤型への多様化により、中長期的な売上拡大に寄与すると同社は考える。

導出済・導出準備パイプラインの状況

P2X7受容体拮抗薬やTRPM8遮断薬、動物用医薬品5-HT4作動薬などの導出済プログラムについては、導出先およびサブライセンス先の企業において、前臨床試験開発段階以降の取り組みが進められている。

導出準備プログラムについては、自社開発を進めているグレリン受容体作動薬の前臨床試験を完了し、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施している。また、テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、第1四半期に引き続き第2四半期においても、提携先候補企業との協議を進めた。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て、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

探索研究段階では、引き続き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。既存技術と新技術の相乗効果によって創薬バリューチェーンを強化することで、従来の技術では困難とされてきた未開拓の創薬標的（遺伝子・タンパク質など）に対する医薬品を生み出すことを重要な成長戦略とし、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、技術およびパイプラインの強化に取り組んでいる。

モダリティおよび創薬標的については、2024年3月に連結子会社としたファイメクス社を中核として、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤の研究開発を進めている。ファイメクス社は、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下アステラス製薬社）とともに、ファイメクスが保有する、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）を用いて、がんを標的疾患として複数の標的を対象とした標的タンパク質分解誘導剤の探索に取り組んでいる。

2025年5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）と共同で実施中の眼疾患治療薬創製において、良好な結果が得られた。DWTI社との共同研究は2022年12月より開始し、同社は自社のイオンチャンネル創薬技術を活かして特定のイオンチャンネルを標的とした化合物群の合成を担当し、DWTI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同化合物群の眼疾患治療薬の可能性を検証してきた。その結果、網膜疾患の動物モデルにおいて良好な薬理作用が確認された。共同研究は継続中であり、当該結果をもとに更なる検証を進め、次の段階への協業の可能性を追求する方針である。

さらに、がん治療薬の創出を目標として、mRNAを標的とする低分子医薬品の創出に向けた共同研究を株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下VIS社）と進めている。当中間期においては、共同研究で取り扱う標的遺伝子の研究範囲を拡大すると共に、双方のノウハウを活かして複数遺伝子に対するスクリーニングを実施し、開発化合物の創出を目指した創薬研究の起点となり得る低分子化合物を複数取得した。

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/AM80/TM-411/SY-1425）については、両社間で今後の事業戦略について協議した結果、2025年4月11日付で双方の合意のもとライセンス契約を終了した。

HKイノエン社との資本業務提携契約の締結

同社は2025年3月21日、HKイノエン社との間で資本業務提携契約を締結し、HKイノエン社に対して第三者割当による新株式を発行した。同社はHKイノエン社に対して、同社普通株式2,592,100株（当該資金調達後の所有議決権比率10.62%）を割り当て、同年4月18日に払い込み手続きが完了した。

この提携は、HKイノエン社からの出資により財務基盤を強化するとともに、両社間での戦略的なパートナーシップの構築を目的としている。研究開発をはじめとする多岐にわたる分野で相乗効果を創出し、企業価値の最大化を目指す。調達資金は、同社の成長戦略の重要な柱である研究開発投資および設備投資に重点的に充当する予定で、具体的な資金使途は以下の通りである。

- 探索研究段階に係る継続的な開発化合物の創出のための研究開発費（共同研究や外部委託等の外部との連携を含む）
- グレリン受容体作動薬等、前臨床試験段階以降にある既存化合物の価値向上のための研究開発費（原薬製造、前臨床試験、臨床試験等を含む）
- 設備投資のための投資資金

第2四半期決算発表時点の見通し

第2四半期末時点における、2025年12月期連結業績予想に対する事業収益の進捗率は、39.5%となった。同社によれば、ほぼ期初予想通りに推移しており、第2四半期決算発表時点で、業績予想に修正はない。

ロイヤルティ収入は順調に伸長していることから、今期は2024年12月実績の1,944百万円を超えるともっている。日本におけるテゴプラザンの導出やファイメクスにおける契約一時金、アステラス製薬社からのマイルストーンや研究協力金などのその他収益を積み上げることで、通期目標の達成を目指している。

テゴプラザンについては、グローバル展開が順調に進んでおり、第2四半期にエクアドルとインドで承認を取得して、販売開始に向けた準備を進めている。一方で課題となっているのは欧州と日本で、欧州はHKイノエン社が、日本は同社がライセンス導出を実現すべく協力をを行っている。米国における第Ⅲ相臨床試験は良好な結果をもって2025年8月に完了し、第4四半期に承認申請を予定している。この結果により、テゴプラザンが胃食道逆流症の画期的な治療選択肢となる可能性が示され、HKイノエン社は下期の導出を目指して欧州における活動を活発化させている。日本についても、米国の結果を受けて成功確率に関する懸念は払拭された。従来からの交渉先に加えて、新たな候補先との交渉も始まっている。

HKイノエン社との資本業務提携によって1,017百万円を取得したことから、第2四半期末時点の手元資金は約4,200百万円となった。たとえ契約一時金などのその他収益が計画通りに積み上がり、通期で赤字を計上することになったとしても、すぐに資金調達が必要な状況にはない、と同社はみている。

2025年12月期第1四半期実績（2025年5月15日発表）

業績概要

2025年12月期第1四半期（2024年1月～3月）実績

- 事業収益：965百万円（前年同期比48.8%増）
- 営業利益：93百万円（同109.2%増）
- 経常利益：29百万円（前年同期は77百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：5百万円（同78百万円の損失）
- 研究開発費：385百万円（同7.3%増）

2025年12月期連結業績予想に対する第1四半期末時点における進捗率は、事業収益24.8%、営業利益78.9%、経常利益40.0%となった。

増収増益の要因

当第1四半期は、上市品4製品のロイヤルティに加え、テゴプラザンのグローバル展開が順調に拡大し、ロイヤルティが614百万円（前年同期比11.4%増）、契約一時金やマイルストーンなどその他が351百万円（同261.9%増）となった。その他の売り上げには、ファイメクス社がアステラス製薬社との共同研究において、次段階の初期目標を達成して受領したマイルストーン収入200百万円や研究協力金が含まれる。

事業費用の総額は872百万円（前年同期比44.4%増）、うち事業原価は222百万円（同267.3%増）、研究開発費は385百万円（同7.3%増）、その他販売費及び一般管理費は265百万円（同43.6%増）となった。ファイメクス社の連結子会社化による影響は前期第2四半期からのため、事業費用の増加は基本的に連結化による影響である。ラクオリア単体の研究開発費は、グレリン受容体作動薬の前臨床試験費用がなくなったことで前年同期より減少した。事業費用の通期計画に対する進捗率は23.1%、研究開発費は22.7%であった。

事業費用は増加したものの、増収効果により営業利益は前年同期比109.2%増と大幅に増加し、営業利益率は9.6%（同2.7%ポイント上昇）となった。デリバティブ評価益22百万円、受取利息4百万円などの営業外収益を計上したが、為替差損73百万円、支払利息14百万円などを営業外費用に計上し、経常利益は確保したが、法人税等の影響で四半期純損失となった。

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：グラピプラント）、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。

テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB[®]）は、韓国における売上が引き続き順調に推移した。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[®]」の当期における売上（院外処方データ）は、514億ウォン（前年同期比13.7%増、約5,140百万円、1韓国ウォン0.10円換算）となった。韓国におけるK-CAB[®]の抗潰瘍剤市場でのシェアは15%で、引き続きシェア1位を維持している。また、前年度まで当初想定を大きく下回っていた中国における売上についても、順調に拡大し、高い伸び率となった。

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イノエン社は2028年までに世界100カ国に進出することを目指しており、当第1四半期末時点で、テゴプラザンは世界48カ国に進出している。HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が、開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。

HKイノエン社は第1四半期において、Southern XP IP Pty Ltd（非上場、以下 Southern XP社）とライセンス契約を締結し、Southern XP社はオーストラリアおよびニュージーランドにおけるテゴプラザン製品の独占流通および販売権を取得したことを発表した。Southern XP社は、20年以上製薬事業を営んできたオーストラリアの製薬会社で、オーストラリアおよびニュージーランド内の医薬品の登録および流通に強みを持つ。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Southern XP社から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。

当第1四半期末時点でテゴプラザンが販売されているのは、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、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラおよびエルサルバドルの15カ国で、同社はHKイノエン社との契約に基づき、開発の進展に応じたマイルストーン収入または製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部を受領している。東南アジアや中南米の国々でも承認審査が進行中であるほか、米国およびカナダなどの国々で臨床開発が進められている。

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、導出先およびサブライセンス先の企業において、前臨床試験や臨床試験などの取り組みが進められている。

導出準備プログラムについては、大型ライセンス契約の獲得を目指して、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を完了した。グレリン受容体作動薬はライセンスアウトに向けて秘密保持契約下で交渉中であり、導出先で臨床試験を行う想定のため、臨床試験で用いる原薬の安定性試験を継続している。また、テゴブラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、前期に引き続き当第1四半期においても、提携先候補企業との協議を進めた。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て、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

探索研究段階では、引き続き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、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、技術およびパイプラインを強化している。既存技術と新技術の相乗効果によって創薬バリューチェーンを強化することで、従来の技術では困難とされてきた未開拓の創薬標的（遺伝子・タンパク質など）に対する医薬品を生み出すことを重要な成長戦略としている。

モダリティおよび創薬標的については、2024年3月に連結子会社としたファイメクス社を中核として、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤の研究開発を進めている。ファイメクス社は、アステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下アステラス製薬社）とともに、ファイメクス社が保有する、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術であるRaPPIDS™（Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System）を用いて、がんを標的疾患として複数の標的を対象とした標的タンパク質分解誘導剤の探索に取り組んでいる。当第1四半期においては、特定の1つのプログラムについて次段階の初期目標を達成し、アステラス製薬社から一時金を受領した。

当該プログラムにおける今後の研究開発においては、アステラス製薬社での更なる検討により、開発候補化合物の同定に向けた研究を行う。開発候補化合物が同定され、新たな医薬品の製品化に至った場合、ファイメクス社は、開発、申請・承認、販売などの進捗に応じたマイルストーンとして最大で15,000百万円を上回る金額を受領するとともに、製品の売上高に対して1ケタ台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

同社は2025年3月、日産化学株式会社（東証PRM 4021、以下日産化学社）との間で、日産化学社が保有する新規創薬研究成果の一部を対象とした、独占的ライセンス契約を締結した。同社は、日産化学社の研究成果の一部である特定の神経疾患に関するノウハウに関して、全世界で研究・開発・販売を行うための再実施権付独占的通常実施権を取得し、そのノウハウに基づいて同社が開発候補品を創製し、開発を進める。

HKイノエン社との資本業務提携契約の締結

同社は2025年3月21日、HKイノエン社との間で資本業務提携契約を締結し、HKイノエン社に対して第三者割当による新株式を発行した。同社はHKイノエン社に対して、同社普通株式2,592,100株（当該資金調達後の所有議決権比率10.62%）を割り当て、第三者割当増資による約1,029百万円の資金調達を行うと同時に、戦略的なパートナーシップの構築を目的としている。同社はHKイノエン社からの出資により財務基盤を強化するとともに、HKイノエン社との連携を深めることで、研究開発をはじめとする多岐にわたる分野で相乗効果を創出し、企業価値の最大化を目指す。すべてのプログラムにおいてHKイノエン社と共同で行うのではなく、両社にとってメリットのあるプログラムについて合意して進める方針としている。調達資金は、同社の成長戦略の重要な柱である研究開発投資および設備投資に重点的に充当する予定である。

具体的な資金使途

- 探索研究段階に係る継続的な開発化合物の創出のための研究開発費（共同研究や外部委託等の外部との連携を含む）
- グレリン受容体作動薬等、前臨床試験段階以降にある既存化合物の価値向上のための研究開発費（原薬製造、前臨床試験、臨床試験等を含む）
- 設備投資のための投資資金

| 具体的な使途 | 金額 (百万円) | 支出予定時期 | |
|-------------------------|-------------|------------------|---|
| 新規モダリティをはじめとする創薬研究基盤の強化 | 341 | 2025年5月～2027年12月 | 標的タンパク質分解誘導剤（TPD）、mRNA標的低分子をはじめとする新規モダリティとそれに関連した基盤技術などへの研究開発投資 グレリン受容体作動薬やIRAK-M分解誘導薬などの自社パイプラインから選択したプログラムについて、より価値を高めて導出するための各種データの取得や、前臨床・臨床試験の実施または準備に係る研究開発投資 探索研究活動の業務の効率化や成功確率を高めるための設備投資 |
| 開発パイプラインの拡充 | 426 | | |
| ラボの設備強化 | 250 | | |
| 合計 | 1,017 | | |

出所：会社資料よりSR社作成

第16回新株予約権の行使価額修正

同社は2025年4月、HKイノエン社との資本業務提携による新株式発行に伴い、同社は2023年1月にCVI Investents, Inc.を割当先として発行した第16回新株予約権の行使価額を、1株当たり1,556円から397円に修正した。修正後の行使価額は、HKイノエン社に割り当てた新株式の発行価額と同額となった。同年4月17日時点における第16回新株予約権の未行使残存個数は12,500個で、修正により資金調達額は最大1,945百万円から約496百万円に減少した。

第1四半期決算発表時点の見通し

2025年4月には、米国でBraintree社が2022年10月から実施しているテゴプラザンの第III相臨床試験において、良好なトップラインデータが得られた。びらん性胃食道逆流症（EE）および非びらん性胃食道逆流症（NERD）を対象とした、ピボタル試験（承認申請に必要なデータを取得するための検証的試験）で、EEとNERDの両方において、全ての主要評価項目および副次的評価項目を達成した。安全性および忍容性は、プラセボ（有効成分を含まない偽薬）およびプロトンポンプ阻害薬（PPI）の一種で比較対象となったランソプラゾールと同程度であった。この結果を受けて、Braintree社は2025年12月期第3四半期に試験を完了し、第4四半期に承認申請を予定している。

また、同年5月にはHKイノエン社がサブライセンス先のTabuk社との地域拡大契約の締結を発表し、中東・北アフリカ地域における対象地域が合計16カ国となった。これにより、同年5月末時点でテゴプラザンは54カ国に進出している。

シロス社との契約が2025年4月に終了した子会社テムリック社のタミバロテンについては、契約に基づいてデータなどが返還されており、今後については検討中である。

2024年12月期通期実績（2025年2月14日発表）

業績概要

2024年12月期（2024年1月～12月）通期実績

- 事業収益：3,108百万円（前期比63.5%増）
- 営業損失：213百万円（前期は337百万円の損失）
- 経常損失：362百万円（同293百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する当期純損失：495百万円（同324百万円の損失）
- 研究開発費：1,704百万円（同24.1%増）

2024年12月期連結業績予想は、2024年12月13日付で修正された。修正後の予想に対する事業収益の達成率は、99.1%となった。連結子会社化により、当期第2四半期からファイメクス社の業績が反映されている。

期初予想との差異

事業収益が期初予想から1,428百万円下回って着地したのは、主に2つの要因からである。テゴプラザンの日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約締結が2025年12月期にずれ込んだことから、契約一時金として想定していた1,000百万円が期初予想より減少した。また、子会社においては、ファイメクス社での新たな共同研究契約や、テムリック社におけるライセンス交渉が進展しなかったことで400百万円が期初予想より減少した。

一方、事業費用については、期初予想を853百万円下回った。これは、臨床開発準備費用などが679百万円減少したことや、事業原価や契約の期ずれなどにより174百万円減少したことによる。

増収減益の要因

当期は、上市品4製品のロイヤルティに加え、テゴプラザンのグローバル展開が順調に拡大し、ロイヤルティが1,944百万円（前期比21.2%増）、契約一時金やマイルストーンなどその他が1,163百万円（同291.6%増）となった。第4四半期（2024年10月～12月）の3カ月間では、Vetbiolix社のオプション料と、久光製薬社からのナトリウムチャンネル遮断薬のマイルストーンを受領した。

事業費用の総額は3,321百万円（前期比48.4%増）、うち事業原価は626百万円（同155.4%増）、研究開発費は1,704百万円（同24.1%増）、その他販売費及び一般管理費は991百万円（同159.6%増）となった。事業費用の増加はファイメ

クス社の子会社化による影響が大きく、人件費や研究開発費が増加した。研究開発費の増加については、主にグレリン受容体作動薬とIRAK-M分解誘導薬の臨床開発準備費用による。これらのコストの増加により、営業損失213百万円を計上した。為替差益39百万円、受取利息5百万円などの営業外収益を計上したが、支払利息43百万円、シンジケートローン契約によるアレンジメントフィー141百万円、デリバティブ評価損22百万円などを営業外費用に計上し、経常損失、四半期純損失となった。

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、引き続き順調に推移している。ELURA™については2023年に製造販売承認を取得した欧州では、2024年8月にフランスで販売が開始され、マイルストーン達成に伴う一時金を受領した。2024年2月には、エランコ社の日本法人であるエランコジャパン株式会社が農林水産省から日本国内における製造販売承認を取得し、同年11月にエランコ社によって製品名「エルーラ™」の販売が開始された。

テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB®）は、韓国における売上が引き続き順調に推移した。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®」の当期における売上（院外処方データ）は、1,969億ウォン（前期比24.4%増、約21,659百万円、1韓国ウォン0.11円換算）となった。韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは15%で、引き続きシェア1位を維持している。

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イノエン社は2028年までに世界100カ国に進出することを目指しており、当期末時点で、テゴプラザンは世界46カ国に進出している。HKイノエン社のライセンス先である企業（以下サブライセンス先企業）が、開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。

当期においては、新たにチリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラおよびエルサルバドルにおいて、テゴプラザンの販売が開始された。当期末時点でテゴプラザンが販売されているのは、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、ペルー、チリ、コロンビア、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラス、グアテマラおよびエルサルバドルの15カ国で、同社はHKイノエン社との契約に基づき、開発の進展に応じたマイルストーン収入または製品の売上高などに応じてHKイノエン社がサブライセンス先から得た収入の一部を受領している。

韓国に続く2カ国目として2022年にサブライセンス先であるLuoxin社によって製品販売が開始された中国では、現在31の省・行政区でテゴプラザンが販売されている。Luoxin社は、注射剤の開発に向けた臨床試験の実施について国家薬品监督管理局から承認を受け、さらにヘリコバクター・ピロリ感染症の治療を目的とした併用療法に関する販売承認を取得した。米国においては、サブライセンス先であるBrainree社が第III相臨床試験を実施している。2025年1月にはオーストラリアとニュージーランドにおいて、HKイノエン社がサブライセンス契約の締結を発表し、テゴプラザンの進出は48カ国となった。

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、導出先およびサブライセンス先の企業において、前臨床試験や臨床試験などの取り組みが進められている。

当期はXgene社に導出したTRPM8遮断薬について、豪州における第I相臨床試験を開始し、同社は一時金を受領した。また、同社がVetbiolix社に導出した5-HT4作動薬について、Vetbiolix社が2024年12月にペット用医薬品を開発するためのライセンスに係るオプション権を行使し、同社はオプション料の支払いを受けるとともに、開発の進捗に応じたマイルストーン、上市後にVetbiolix社が受領する製品売上高またはライセンス収入に応じた販売ロイヤルティを受け取る権利を取得した。さらに、久光製薬社に導出した新規ナトリウム遮断薬を含む貼付剤について、あらかじめ定めた開発マイルスト

ンを達成し、同社は一時金を受領した。一方、マルホ社に導出した選択的ナトリウムチャンネル遮断薬については、今後の開発について協議した結果、2024年12月にライセンス契約を終了した。

2024年4月、同社はVelovia Pharma社との間で、消化器疾患、代謝性疾患および繊維症への応用が期待される4つの開発化合物について、動物用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約を締結した。Velovia Pharma社から一つまたは複数の同化合物に対するオプションが行使された場合、同社はオプション行使料を受け取るとともに、その後の開発に応じたマイルストンの支払いを受ける権利を取得する。さらに、同化合物を含有するペット用医薬品が販売に至った場合は、製品売上高に基づく販売ロイヤリティおよび売上マイルストーンを受け取る権利を有する。

導出準備プログラムについては、大型ライセンス契約の獲得を目指して、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の最終化を進めるとともに、臨床試験前の提携を目指す方針に切り替え、導出先の獲得に向けた事業開発活動を本格化させた。前臨床試験は終了し、レポートの作成や最終報告書のデータの品質保証などの作業を行っている。秘密保持契約を締結し、複数の企業を対象に導出活動を進めている。

テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、国内での速やかな上市を実現するため、自社による臨床開発の実施を見送り導出活動に専念して候補先企業との協議を進めた。期初計画では当期中のライセンス契約締結を目指していたが成約に至らず、翌期にずれ込むこととなった。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。

探索段階・共同研究

探索研究段階では、引き続き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、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、技術およびパイプラインを強化している。既存技術と新技術の相乗効果によって創薬バリューチェーンを強化することで、従来の技術では困難とされてきた未開拓の創薬標的（遺伝子・タンパク質など）に対する医薬品を生み出すことを重要な成長戦略としている。

モダリティおよび創薬標的については、2024年3月に連結子会社としたファイメクス社を中核として、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤の研究開発を進めている。ファイメクス社が保有する、標的タンパク質分解誘導剤に特化した独自のプラットフォーム技術「RaPPIDS™」は、同社グループの基盤技術の強化に大きく寄与するほか、現在進行中の共同研究に基づく収益をもたらしている。

STAND Therapeutics株式会社（非上場、以下 STAND社）との共同研究を通じて、細胞内抗体技術の創薬応用にも取り組んでいる。また、同社が強みとしてきた低分子創薬の新たな取り組みとして、mRNAを標的とする低分子医薬品の創出に向けた共同研究が、株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下 VIS社）との間で進行中である。これらの取り組みを通じて、同社が研究開発を手掛ける疾患領域は、がん領域に拡大した。2023年に湘南ヘルスイノベーションパークに設置した新たな研究拠点では、新規モダリティを用いた創薬に取り組んでいる。

タミバロテンの状況

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）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実施された。

AMLについては2024年8月、タミバロテン、ベネトクラクスおよびアサシチジンの併用療法に関する第II相臨床試験（SELECT-AML-1）が最終解析で優位性を示す確率は低いと考えられたため、シロス社は新規の患者登録を中止する決定を下した。

MDSについては、タミバロテンとアサシチジンの併用療法に関する第III相臨床試験（SELECT-MDS-1）の主要評価項目の解析に必要な症例登録が、第1四半期に完了した。シロス社は、同年11月、同試験において主要評価項目である完全奏効率（CR率）が達成できず、同試験を中止すると発表した。

ニュース&トピックス

胃酸分泌抑制剤 tegoprazan の日本における導出を伴う HK inno.N Corporation との 資本業務提携の拡大及び第三者割当による新株式の発行に関して発表

2025年12月12日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、胃酸分泌抑制剤「tegoprazan（テゴプラザン）」の日本における開発・販売にかかるサブライセンス権付き独占の実施権をHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社または割当予定先）に導出し、第三者割当による新株式発行により資本業務提携を強化する、と発表した。

（リリースへのリンクは[こちら](#)）

同資本業務提携などの拡大は、割当予定先（HKイノエン社）に対する第三者割当増資による資金調達と、割当予定先と同社間の戦略的なパートナーシップのさらなる強化を目的としている。割当予定先は、同社が創出した胃酸分泌抑制剤「tegoprazan」のライセンスを導入して世界で初めて医薬品として上市し、さらに世界各国を対象とした事業開発活動を展開している重要なパートナーである。割当予定先と同社は、tegoprazanの開発段階から緊密な連携を重ね、長年にわたり強固な信頼関係を構築してきた。

2025年3月21日、同社は割当予定先と資本業務提携契約を締結した。同提携は、同社の財務基盤を強化するとともに、割当予定先との連携を深めることで、研究開発をはじめとする多岐にわたる分野で相乗効果を創出し、企業価値の最大化を図るものである。

業務提携の内容

主な内容は以下に記載のとおりで、ライセンス契約変更契約に基づき、tegoprazanについて日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権を割当予定先に許諾する。また、これらに加え、割当予定先および同社の更なる企業価値向上に資する施策の検討および協議を進める。

- ① 同社の割当予定先に対する、日本における tegoprazan の独占的な開発・製造・販売権の許諾
- ② 同社が保有する開発化合物の価値向上に関する協力
- ③ 共同研究の実施
- ④ その他の研究開発に関する協力

2025年3月の提携契約締結以降、両社間で将来の事業協力や共同研究について協議を重ねた結果、tegoprazanの日本国内での事業化、およびtegoprazanに次ぐ画期的な医薬品の継続的な創出が、両社共通の目標であることが確認された。

同社が創出したtegoprazanは、現在、開発・販売権が付与された国が世界54カ国に達し、そのうち18カ国（2025年11月14日現在）で販売が開始されているグローバル医薬品である。しかしながら、創出の地である日本では臨床開発が開始されていない。これは、国内の権利保有者である同社単独での開発リソースが不足していることに加え、多額な費用を要する後期臨床試験を実施可能な提携先の確保に時間を要したためである。また、激動の医薬品業界において企業価値を向上させるためには、創薬研究の強化により魅力的な開発パイプラインを継続的に創出する必要がある。

同社は2025年12月期の最重要課題としてtegoprazanの国内事業化を掲げ、期中の契約締結に向けて協議を進めてきた。tegoprazanの国内導出は同社の企業価値の維持・向上に直結する重要事項であり、臨床開発の遅延は、上市時期の後ろ倒しによる独占販売期間の短縮を招き、ピーク売上を最大化を困難にする。加えて、基本特許の存続期間（出願日から20年）の減少は、特許切れリスクを高め、競合品の早期参入を誘発する要因となる。

以上を踏まえて、両社の協力関係をさらに強化することを目的として、提携内容を拡大することとした。その主たる内容は、tegoprazanを有効成分とするヒト用医薬品の商業化を目的として、日本を対象とした独占的な開発・製造・販売権を割当予定先に許諾し、割当予定先が後期臨床試験の実施に向けた取り組みを進める点にある。日本を対象とした独占的

な開発・製造・販売権の許諾にかかる一時金はないものの、同社は今後の事業化の進展に応じたマイルストーン、販売ロイヤリティ、および割当予定先が提携先から受領する収益の一部を受け取る権利を取得する。

これらに加えて、tegoprazanに続く画期的な医薬品の創出に向けた研究基盤の強化に取り組み、同社グループの中長期的な株主価値の向上を図るとともに、同社のミッションである「イノベーションの力で、いのちに陽をもたらす」を実現すべく、創業研究開発活動をさらに加速させる方針である。

なお、同社によれば、同資金調達による2025年12月期の業績への影響は軽微であり、業績予想に変更はない。同割当により、HKイノエン社は同社の発行済株式数の約16.0%を保有する筆頭株主となる。

新株式発行の概要

| | |
|-------------------|-------------------------------------|
| 発行新株式数 | 普通株式 1,555,900 株 |
| 発行価額 | 1株当たり907円 |
| 払込期日 | 2026年1月29日 |
| 調達資金の額 | 1,411,201,300 円 |
| 払込金額の総額 | 1,411 百万円 |
| 発行諸費用の概算額 | 9百万円 |
| 差引手取概算額 | 1,402 百万円 |
| 募集又は割当方法 | 第三者割当の方法による |
| 割当予定先 | HK inno.N Corporation |
| 増加する資本金および資本準備金の額 | 資本金：705,600,650円、資本準備金：705,600,650円 |

出所：会社資料よりSR社作成

資金使途および支出予定時期

| 具体的な使途 | 金額（百万円） | 支出予定時期 | |
|--|---------|------------------|---|
| ① 創業研究基盤の強化 (割当予定先との共同研究プロジェクトの推進に寄与する技術基盤) | 284 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度80百万円 2027年度80百万円 2028年度124百万円 |
| ② 開発パイプラインの拡充に向けた取り組み (割当予定先との共同研究を通じた新たな開発パイプラインの創出) | 267 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度118百万円 2027年度90百万円 2028年度58百万円 |
| ③ 試験研究用の実験研究機器等の設備強化 (割当予定先との共同研究プロジェクトの推進に寄与する実験研究機器の購入) | 291 | 2026年2月～2028年12月 | 2026年度70百万円 2027年度101百万円 2028年度120百万円 |
| ④ シンジケートローン返済 | 559 | 2026年3月～2027年3月 | 2026年度500百万円 2027年度59百万円 |
| 合計 | 1,402 | | |

出所：会社資料よりSR社作成

胃酸分泌抑制剤tegoprazanの販売承認に関するマイルストーン達成に伴う一時金受領に関して発表

2025年12月12日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、胃酸分泌抑制剤tegoprazanのインドにおける販売承認取得に関するマイルストーン達成に伴う一時金受領に関して発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、HK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazanについて、HKイノエン社の提携先であるDr. Reddy's Laboratories（NSE DRREDDY、以下 Dr. Reddy's社）がインド中央医薬品標準管理機構（Central Drugs Standard Control Organization：CDSCO）より販売承認を取得したことに伴い、マイルストーン達成が認定され、一時金を受領することとなった。

Tegoprazanは、同社が創出したカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（Potassium Competitive Acid Blocker：P-CAB）と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃食道逆流症治療の第一選択薬であるプロトンポン

ンブ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで、PPIよりも速やかに、かつ持続的に胃酸分泌を抑制するという特長を持つ新世代の治療薬である。Tegoprazanは、HKイノエン社により販売名「K-CAB®」として2019年に韓国で販売され、2024年までに韓国国内売上（院外処方実績）累積7,054億ウォン（約77,594百万円、1韓国ウォン0.11円換算）に達する大型製品となっており、韓国における胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。Tegoprazanは世界54カ国に進出し、販売されている国は18カ国に拡大している。

インドについては、2022年、HKイノエン社とDr. Reddy's社の間でインド、南アフリカ共和国および東ヨーロッパなど計7カ国を対象とする製品輸出に関する契約が締結された。以後、Dr. Reddy's社が臨床開発等の取り組みを進め、2025年5月にインド中央医薬品標準管理機構（CDSCO）から販売承認を取得した。50mg製剤として承認されており、適応疾患は、びらん性胃食道逆流症（EE）、非びらん性胃食道逆流症（NERD）、胃潰瘍の3つで、同年9月から販売が開始された。

インドの消化性潰瘍薬の市場規模は、2024年時点で約1兆5,200億ウォン（約167,200百万円、同）と評価されており、中国、米国、日本に次ぐ世界第4位の規模である。インドでは人口の約38%が胃食道逆流症（GERD）に悩まされており、効果的な治療の重要性が高まっている。Dr. Reddy's社は2025年9月に50mg製剤をインド市場に投入し、同国の消化性潰瘍治療のパラダイムシフトを目指す。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。インドにおける製品販売の開始はマイルストーンに設定されていなかったが、契約に基づく調整を経て、販売承認に関するマイルストーン達成により、HKイノエン社から一時金400万米ドル（620百万円、1米ドル155円換算）を受領し、2025年12月期第4四半期の事業収益として計上する。

タミバロテンとがん治療薬併用投与の米国における用途に関する特許査定に関して発表

2025年11月28日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、米国で出願し、これまで審査中であったタミバロテン（AM80）の用途に関する特許について、特許査定の連絡を受けた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社の連結子会社であるテムリック株式会社が権利を有するタミバロテン（AM80）の用途に関して、同社が米国で出願し、審査中であった特許（出願番号18/010,686）について、特許査定の連絡を受けた。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。

今般特許査定を受けた発明は、合成レチノイド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。膵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間質^{*1}の中の主な構成要素であるがん関連線維芽細胞（CAF）^{*2}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。また、CAFにはがん促進性の細胞（がん細胞の味方）とがん抑制性の細胞（がん細胞の敵）の両者が存在し、がん抑制性CAFの特異的機能マーカーとしてMeflin（メフリン）^{*3}分子が同定されている。

*1 間質とは、がん細胞を取り囲む、がん細胞以外の領域

*2 がん関連線維芽細胞（CAF）はがん間質を構成する線維芽細胞で、がん細胞の悪性化（増殖、浸潤、転移）を促進するさまざまな因子の産生にかかわる

*3 Meflin（メフリン）は、国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学大学院の研究チームが、未分化な間葉系幹細胞（骨、軟骨、脂肪組織などへの多分化能を有する細胞）および線維芽細胞の特異的マーカーとして同定したタンパク質

同発明において、タミバロテンなどのレチノイドがメフリン遺伝子の発現を増強し、がん促進性CAF（がん細胞の味方）をがん抑制性CAF（がん細胞の敵）に変換させる作用を持つこと、および間質中にCAFの浸潤を伴う悪性腫瘍を有するが

ん患者において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。同発明により、膵がんなどの抗がん剤治療抵抗性の悪性腫瘍を有するがん患者に、効果の高いがん治療の提供を同社は期待する。

今回の特許査定により、日本、韓国に続き米国においても、同社の知的財産権が強化されることとなった。なお、同社によれば、本件による2025年12月期の通期連結業績への影響はないものの、同特許がタミバロテンの今後の開発などを通じて、中長期的に同社グループの企業価値の向上に寄与するものと同社は考える。

ファイメクス株式会社のアステラス製薬株式会社との共同研究における新規標的追加に関して発表

2025年11月27日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、連結子会社ファイメクス株式会社（以下 ファイメクス社）がアステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下 アステラス製薬社）との研究において、新たに2つの標的を追加することで合意した、と発表した。

（リリースへのリンクは[こちら](#)）

同社の連結子会社ファイメクス社が、アステラス製薬社との共同研究において、新たに2つの標的を追加することで合意したことに伴い、ファイメクス社は契約条件に基づきアステラス製薬社から一時金400百万円を受領する。

ファイメクス社は2022年に、アステラス製薬社と、標的タンパク質分解誘導剤の共同研究に関する契約を締結した。それ以来、同共同研究契約に基づき、ファイメクス社は独自のプラットフォームであるRaPPIDS™を用いて、アステラス製薬社とともに、がんを標的疾患として複数の標的を対象とした標的タンパク質分解誘導剤の探索に取り組んできた。2024年5月にはそのうちの特定の1つのプログラムについて初期目標を達成し、2025年3月には同一プログラムにおいて、あらかじめ定められた共同研究計画を完了し、次の研究段階に進むことが決定している。

開発候補化合物が同定され、新たな医薬品の製品化に至った場合、ファイメクス社は、開発、申請・承認、販売などの進捗に応じたマイルストーンとして、最大で15,000百万円を上回る金額を受領するとともに、製品の売上高に対してひと桁台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

なお、本件による2025年12月期連結業績への影響については、すでに織り込み済みである。今後のさらなる進展の可能性も含め、中長期的に同社グループの成長可能性と企業価値の向上に大きく寄与すると同社は考える。

韓国大法院における全件勝訴判決に関して発表

2025年11月21日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、韓国における胃酸分泌抑制剤tegoprazanの物質特許について、大法院（第三審相当）においても全件勝訴判決を獲得した、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、同社の保有する胃酸分泌抑制剤tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®錠」）の韓国物質特許（韓国特許番号：特許第1088247号）について、韓国の後発品メーカー等60社以上により消極的権利範囲確認審判が請求され、延長された特許権の効力範囲について争っていた。今般、特許審判院の審決（第一審に相当）および審決取消訴訟（第二審）に続いて大法院（第三審）においても、全件勝訴判決を獲得した。

tegoprazanは、同社が創製し、提携先であるHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）が韓国で開発し、「K-CAB®錠」として販売するGERD（胃食道逆流症）などの酸関連疾患に対する胃酸分泌抑制剤である。当該物質特許の存続期間は、医薬品などの特許権の存続期間の延長登録制度により2031年まで延長されていた。

しかしながら、韓国の後発品メーカーなどは、通常の特許期間満了直後の2026年からジェネリック医薬品を発売することを目的として、K-CAB®錠の適応症のうち、当初承認適応症（びらん性胃食道逆流症および非びらん性胃食道逆流症）を除いた、後続承認された3つの適応症（胃潰瘍、ヘリコバクターピロリ除菌のための併用療法および維持療法）につい

て、延長された特許権の効力は及ばないと主張し、審判を請求した。これに対し、2024年、特許審判院は同社の主張を支持し、延長された特許権の効力は後続承認の適応症にも及ぶとの判断を示した。第二審に相当する特許法院も同社の主張を支持する判決を言い渡した。

その後、一部の原告は第三審に相当する大法院に上告し、訴訟が継続していたが、大法院は、原告の上告を全て棄却する判決を言い渡し、終局的に判決が確定した。これにより、2031年までの韓国におけるK-CAB[®]錠の独占販売権が完全に確立され、揺るぎない法的保護のもとで同社の市場優位性が盤石なものとなった。同時に、同社が受け取るロイヤルティが確保されることになる。今回の勝訴判決は同社の知的財産戦略の成果であり、今後の成長に向けた強力な基盤となると同社はみている。

なお、同社によれば、本件に伴う2025年12月期業績への影響は軽微である。

完全子会社テムリック株式会社の吸収合併（簡易合併・略式合併）に関して発表

2025年10月17日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、同日開催の取締役会において、完全子会社であるテムリック株式会社（以下 テムリック社）を吸収合併することを決議した、と発表した。

（リリースへのリンクは[こちら](#)）

同社はグループの事業効率化を図るため、コストの削減と管理業務の簡素化および効率化を実現することを目的として、テムリック社を同社に吸収合併（簡易合併・略式合併）することとした。同社を存続会社とする吸収合併方式で、テムリック社は解散する。同社の完全子会社との合併であるため、同合併による新株の発行および合併交付金の支払いはない。

- 合併契約取締役会決議日：2025年10月17日
- 合併契約締結日：2025年10月17日
- 合併予定日（効力発生日）：2026年1月1日

なお、同社によれば、2025年12月期の連結業績への影響は軽微である。

胃酸分泌抑制剤tegoprazanのインドにおける製品発売に関して発表

2025年9月17日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、HK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazanについて、HKイノエン社の提携先であるDr. Reddy's Laboratories（NSE DRREDDY、以下 Dr. Reddy's社）がインドで新たに製品販売を開始した、と発表した。

（リリースへのリンクは[こちら](#)）

Tegoprazanは、同社が創出したカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（Potassium Competitive Acid Blocker：P-CAB）と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃食道逆流症治療の第一選択薬であるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで、PPIよりも速やかに、かつ持続的に胃酸分泌を抑制するという特長を持つ新世代の治療薬である。

Tegoprazanは、HKイノエン社により販売名「K-CAB[®]」として2019年に韓国で販売され、2024年までに韓国国内売上（院外処方実績）累積7,054億ウォン（約77,594百万円、1韓国ウォン0.11円換算）に達する大型製品となっており、韓国における胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。Tegoprazanは53カ国でHKイノエン社とライセンス契約が締結され、今回のインドでの販売開始によりtegoprazan製品が販売されている国は18カ国に拡大した。

インドについては、2022年、HKイノエン社とDr. Reddy's社の間でインド、南アフリカ共和国および東ヨーロッパなど計7カ国を対象とする製品輸出に関する契約が締結された。以後、Dr. Reddy's社が臨床開発等の取り組みを進め、インド中央医薬品標準管理機構（CDSCO）から販売承認を取得、販売開始に向けた取り組みを進め、販売開始に至った。ブランド名は「PCAB」で、50mg製剤として承認されており、2025年5月時点で、びらん性胃食道逆流症（EE）、非びらん性胃食道逆流症（NERD）、胃潰瘍の3つの適応症で承認を取得している。

インドの消化性潰瘍薬の市場規模は、2024年時点で約1兆5,200億ウォン（約167,200百万円、同）と評価されており、中国、米国、日本に次ぐ世界第4位の規模である。インドでは人口の約38%が胃食道逆流症（GERD）に悩まされており、効果的な治療の重要性が高まっている。Dr. Reddy's社は2025年9月に50mg製剤をインド市場に投入し、同国の消化性潰瘍治療のパラダイムシフトを目指す。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。本件により同社が受け取る一時金はないが、tegoprazanの販売国拡大が中長期的に同社の事業収益および企業価値の向上に寄与するものと同社は考える。

胃酸分泌抑制剤tegoprazanに関する審決取消訴訟の全件勝訴判決に関して発表

2025年8月14日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、韓国における胃酸分泌抑制剤tegoprazanの物質特許について、審決取消訴訟（第二審相当）においても全件勝訴判決を獲得した、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、同社の保有する胃酸分泌抑制剤tegoprazan（韓国販売名「K-CAB[®]錠」）の韓国物質特許（韓国特許番号：特許第1088247号）について、韓国の後発品メーカー等60社以上により消極的権利範囲確認審判*が請求され、延長された特許権の効力範囲について争っていた。今般、特許審判院の審決（第一審に相当）に続いて、審決取消訴訟（第二審）においても、全件勝訴判決を獲得した。これにより、2031年までのK-CAB[®]錠の独占販売権は、より強固に守られることが明確となった。

*消極的権利範囲確認審判とは、第三者が自らの技術や製品が他人の特許権の権利範囲に属さないことを確認するために請求する韓国の審判制度。特許発明の権利範囲を確認する必要がある場合、予め権利範囲を明確にすることによって、紛争の予防や早期解決を図る手段として活用されている。

韓国における審判制度は、特許庁の特許審判院による行政審判を経て、知的財産に関する訴訟を専門に扱う司法機関である特許法院において審理される。その判決に対しては、日本の最高裁判所に相当する大法院への上告が可能である。韓国は日本と同じ三審制を取っており、大法院が最終審として法的判断を下す。

tegoprazanは、同社が創製し、提携先であるHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）が韓国で開発し、「K-CAB[®]錠」として販売するGERD（胃食道逆流症）などの酸関連疾患に対する胃酸分泌抑制剤である。当該物質特許の存続期間は、医薬品などの特許権の存続期間の延長登録制度により2031年まで延長されていた。

しかしながら、韓国の後発品メーカーなどは、通常の特許期間満了直後の2026年からジェネリック医薬品を発売することを目的として、K-CAB[®]錠の適応症のうち、当初承認適応症（びらん性胃食道逆流症および非びらん性胃食道逆流症）を除いた、後続承認された3つの適応症（胃潰瘍、ヘリコバクターピロリ除菌のための併用療法および維持療法）について、延長された特許権の効力は及ばないと主張し、審判を請求した。これに対し、2024年、特許審判院は同社の主張を支持し、延長された特許権の効力は後続承認の適応症にも及ぶとの判断を示した。このたび、第二審に相当する特許法院も同社の主張を支持する判決を言い渡し、これにより2031年までの間、K-CAB[®]錠の独占販売権はより強固に守られることになった。

一部の原告は現在、大法院（第三審）に上告し、訴訟は継続しているが、すでに先行する一部の事件において、審理不続行により上告棄却の判決が言い渡され、同社の勝訴判決が確定している。これまでの司法判断は同社の知的財産権の正当性を強く支持するものであり、同社の立場を大きく後押しする結果となっている。今回の勝訴判決は、同社の知的財産戦略の成果であり、今後の成長に向けた強力な基盤となると同社は考える。

tegoprazanは、HKイノエン社により販売名「K-CAB[®]錠」として2019年に韓国で販売され、2024年までに韓国国内売上（院外処方実績）累積で7,054億ウォン（約70,540百万円、1韓国ウォン0.10円換算）に達する大型製品となっており、韓国における胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。tegoprazanは、54カ国でHKイノエン社とライセンス契約が締結されており、そのうち17カ国でtegoprazan製品が販売されている。同社はHKイノエン社とのライセンス契

約に基づき、収益の一部をロイヤルティとして受け取る権利を保有しており、今回の勝訴判決によって同社が受け取るロイヤルティが確保されることになる。

なお、同社によれば、本件による2025年12月期の業績への影響はない。

胃酸分泌抑制剤tegoprazan、米国における第Ⅲ相臨床試験（TRIUMpH試験）で良好な結果を取得し試験を完了

2025年8月8日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、米国における胃酸分泌抑制剤tegoprazanの第Ⅲ相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）について、良好な試験結果の取得と試験の完了を発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、ライセンス先であるHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）を通じてサブライセンス先の米国Sebela Pharmaceuticals Inc.（以下 Sebela社）に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazanについて、Sebela社の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）が米国で実施中の第Ⅲ相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）において良好な試験結果を取得し、試験を完了した、と発表した。

TRIUMpH試験は、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流症）を対象とした米国第Ⅲ相臨床試験のピボタル試験である。Sebela社は、2025年4月23日（現地時間）、EE試験の治癒フェーズとNERD試験の双方において全ての主要評価項目と副次評価項目が達成されたことを発表していたが、その後も継続して実施されていたEE治癒後の維持療法（治癒した状態を維持するための薬剤による治療）についても、良好な試験結果が得られたことを発表した。

今回、TRIUMpH試験において、最大8週間の初期治療で完全に治癒したEE患者を対象に、tegoprazan 100mg、tegoprazan 50mg、またはlansoprazole 15mg（PPI）を24週間投与し、維持療法の効果を検証した。その結果、tegoprazanは両用量群でlansoprazoleに対して非劣性を示し、主要評価項目である24週間の維持治療効果（寛解維持率）において、全患者群（LAグレード*A-D）で統計的に優れた結果を示した。特に、中等度から重度（LAグレードC-D）の患者では、両用量群でlansoprazoleに比べ改善がみられ、100mg群では統計的な優越性が示された。また、24時間の胸やけ症状がない日数の割合においても、tegoprazanはlansoprazoleに対して非劣性を示した。

* LAグレードとは、胃食道逆流症の内視鏡検査における粘膜障害（炎症）の程度を分類する際に用いられる尺度で、ロサンゼルス分類とも呼ばれる。軽症から順に、グレードAからDまでの4段階に分けられ、粘膜障害の広がりや重さを判断する。グレードCは少なくとも1カ所の粘膜障害が2条以上のひだに連続して広がっているが全周性でないもの（75%以下）、グレードDは全周性（75%以上）の粘膜障害を指す。

さらに、TRIUMpH試験における個別の有害事象の発生率は3%を上回ることなく、ほとんどが軽度かつ一過性であった。重篤な有害事象は1%未満であり、副作用の発現率はtegoprazan群、PPI群、プラセボ群で同程度であった。血清ガストリン値の平均は、治療期間を通じて正常範囲（0~180pg/mL）内に維持された。これらの結果を踏まえ、Sebela社は、2025年12月期第4四半期に、EEおよびNERDを対象として、米国FDAに承認申請を提出する予定である。

Tegoprazanは、同社が創出したカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（Potassium Competitive Acid Blocker : P-CAB）と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃食道逆流症治療の第一選択薬であるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで、PPIよりも速やかに、かつ、持続的に胃酸分泌を抑制する特長を持つ新世代の治療薬である。Tegoprazanは、HKイノエン社により販売名「K-CAB[®]」として2019年に韓国で販売され、2024年までに韓国国内売上（院外処方実績）累積で7,054億ウォン（約70,540百万円、1韓国ウォン0.11円換算）に達する大型製品となっており、韓国における胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。Tegoprazanは、54カ国でHKイノエン社とライセンス契約が締結され、そのうち16カ国でtegoprazan製品が販売されている。

同社は2010年9月に、CJ HealthCare Corporation（現 HKイノエン社）との間で、tegoprazanの東アジア地域を対象とした開発・製造および販売の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結し、2019年11月には北米・欧州を対象とした提携拡大契約を締結した。HKイノエン社は2021年12月に、米国Sebela社の一部門である消化器疾患治療薬専門企業のBraintree社との間で、米国およびカナダにおける独占的な開発・製造および販売権に関するライセンス契約を締結している。

世界の消化性潰瘍治療剤の市場規模は約2兆円で、米国はそのうちおよそ20%を占めると推測されている。現在、北米地域での胃食道逆流症の治療には主にPPIが用いられているが、PPIでは効果がみられない胸焼け症状や食道粘膜障害を持つ患者が約40%を占めるなど、PPIを用いた治療の限界が指摘されている。Tegoprazanが胃食道逆流症治療の新たな選択肢として、これらの未充足ニーズの解消に貢献することを同社は期待している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。本件に伴うHKイノエン社からの一時金の受領はないものの、tegoprazanの更なる進展により同社グループの中長期的な価値向上に資するものと同社は考える。

タミバロテンとがん治療薬併用投与の韓国における用途に関する特許査定に関して発表

2025年8月5日

ラクオリア創薬株式会社（以下 同社）は、韓国で出願し、これまで審査中であったタミバロテン（AM80）の用途に関して、特許査定連絡を受けた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社の連結子会社であるテムリック株式会社が権利を有するタミバロテン（AM80）の用途に関し、同社が韓国で出願していた特許（出願番号10-2023-7000437）について、特許査定連絡を受けた。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。

今般特許査定を受けた発明は、合成レチノイド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。膵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間質^{*1}の中の主な構成要素であるがん関連線維芽細胞（CAF）^{*2}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。また、CAFにはがん促進性の細胞（がん細胞の味方）とがん抑制性の細胞（がん細胞の敵）の両者が存在し、がん抑制性CAFの特異的機能マーカーとしてMeflin（メフリン）^{*3}分子が同定されている。

*1 間質とは、がん細胞を取り囲む、がん細胞以外の領域

*2 がん関連線維芽細胞（CAF）はがん間質を構成する線維芽細胞で、がん細胞の悪性化（増殖、浸潤、転移）を促進するさまざまな因子の産生にかかわる

*3 Meflin（メフリン）は、名古屋大学大学院の研究チームが、未分化な間葉系幹細胞（骨、軟骨、脂肪組織などへの多分化能を有する細胞）および線維芽細胞の特異的マーカーとして同定したタンパク質

同発明において、タミバロテンなどのレチノイドがメフリン遺伝子の発現を増強し、がん促進性CAF（がん細胞の味方）をがん抑制性CAF（がん細胞の敵）に変換させる作用を持つこと、および間質中にCAFの浸潤を伴う悪性腫瘍を有するがん患者において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。同発明により、膵がんなどの抗がん剤治療抵抗性の悪性腫瘍を有するがん患者に、効果の高いがん治療の提供を同社は期待する。

今回の特許査定により、日本に続き韓国においても、同社の知的財産権が強化されることとなった。なお、同社によれば、本件による2025年12月期の通期連結業績への影響はないものの、同特許がタミバロテンの今後の開発などを通じて、中長期的に同社グループの企業価値の向上に寄与するものと同社は考える。

TRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の日本における特許査定に関して発表

2025年5月20日

ラクオリア創薬株式会社は、同社が創出したTRPV4拮抗薬（ピリミジン-4(3H)-オン誘導体）の物質特許（出願番号 特願2022-566153）はこれまで日本で審査中であったが、同日、特許査定連絡を受けた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

今回特許査定を受けたピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、TRPV4の拮抗作用を有する新規な化合物群であり、今回の特許査定により、中国に続き、日本においても知的財産権が強化されることになった。

同社が創出したTRPV4拮抗薬は、TRPV4イオンチャネル受容体に対して特異的に作用し、複数の疼痛・炎症および眼疾患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。同社は、2016年より、岐阜薬科大学との間で、眼疾患に関する産学共同研究を開始し、2021年4月に岐阜薬科大学内に共同研究講座を設置した。同社と岐阜薬科大学薬効解析学研究室の嶋澤雅光教授らの研究グループが実施した共同研究の成果については、2023年に、TRPV4を標的とした新規治療薬が網膜疾患における網膜血管障害の新たな治療オプションとなる可能性を示す内容の論文を発表している。

今回のTRPV4拮抗薬は、同社の強みであるイオンチャネル創薬の成果であり、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た。なお、当該特許査定により、2025年12月期（2025年1月～12月）の同社業績への影響はなく、特許査定を受けたピリミジン-4(3H)-オン誘導体は、今後の開発などを通じて、中長期的に同社の企業価値の向上に寄与するものと同社は認識している。

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の成果に関して発表

2025年5月15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（東証GRT 4576、以下DWTI社）との間で実施している共同研究において良好な結果が得られた、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社はDWTI社との間で、眼疾患治療薬創製に向けた共同研究を2022年12月より実施している。

同共同研究においては、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（以下同化合物群）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た薬効薬理試験などにより、同化合物群の眼疾患治療薬の可能性を検証してきた。その結果、網膜疾患の動物モデルにおいて良好な薬理作用が確認された。現在、共同研究は継続中であり、同結果をもとに更なる検証を進め、次の段階への協業の可能性を追求していく予定である。両社の基盤技術を組み合わせて研究開発を進め、同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なる。

なお、本件による2025年12月期業績予想の変更はないが、中長期的には、研究開発ポートフォリオの強化に繋がるものと同社は考える。

胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中東・北アフリカ地域におけるサブライセンス地域拡大

2025年5月7日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazan（以下テゴプラザン）の中東・北アフリカ地域におけるサブライセンス地域拡大に関して発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同日、同社のライセンス先であるHK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下HKイノエン社）は、同社がHKイノエン社に導出したテゴプラザンについて、中東・北アフリカ地域におけるライセンス契約の地域拡大契約を締結したことを公表した。

HKイノエン社は2024年4月、サウジアラビアのTabuk Pharmaceutical Manufacturing Company（非上場、以下 Tabuk社）との間で、中東・北アフリカ地域10カ国においてテゴプラザン製品を販売するためのライセンス契約を締結した。今般の地域拡大契約により、Tabuk社の対象地域は、エジプト、スーダン、エチオピア、モロッコ、イエメン、リビアの6カ国が追加となり、合計16カ国に拡大される。Tabuk社は、中東・北アフリカ地域において強力な販売網およびマーケティング能力を有するサウジアラビアの大手製薬企業であり、同地域におけるテゴプラザンの市場浸透と更なる拡大を同社は期待している。本件により、テゴプラザンは世界54カ国に進出することとなる。

テゴプラザンは、同社が創出したカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃食道逆流性治療の第一選択薬であるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで、PPIよりも速やかに、かつ持続的に胃酸分泌を抑制するという特徴を持つ、新世代の治療薬である。2019年に世界で初めてテゴプラザン（製造販売会社：HKイノエン社；販売名「K-CAB®」）の販売が開始された韓国においては、2024年の韓国国内売上（院外処方実績）が1,969億韓国ウォン（約19,690百万円、1韓国ウォン0.10円換算）となり、5年連続で韓国の胃酸分泌抑制剤市場でのシェア第1位を維持している。

テゴプラザンのグローバル展開も積極的に推進されており、現時点でテゴプラザン製品が販売されている国は15カ国に上る。また、2025年4月には、テゴプラザンの米国における第III相臨床試験において、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流症）を対象とした両方の試験で、全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。本件に伴うHKイノエン社からの一時金の受領はないものの、テゴプラザンの更なる進展により中長期的な価値向上に資するものと同社は考える。

胃酸分泌抑制剤tegoprazanの米国における第III相臨床試験（TRIUMpH試験）の良好なトップライン結果を発表

2025年4月24日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazan（以下 テゴプラザン）の米国における第III相臨床試験（TRIUMpH試験）の良好なトップライン結果を発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同日、同社のライセンス先であるHK Inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下 HKイノエン社）は、同社がHKイノエン社に導出したテゴプラザンについて、サブライセンス先であるSebela Pharmaceuticals Inc.（非上場、以下 Sebela社）の一部門であるBraintree Laboratories（非上場、以下 Braintree社）が米国で実施中の第III相臨床試験（以下 TRIUMpH試験）について、良好なトップライン結果を発表した。

TRIUMpH試験は、EE（びらん性胃食道逆流症）およびNERD（非びらん性胃食道逆流症）を対象とした米国第III相臨床試験のピボタル試験として実施されている。今回、TRIUMpH試験において、テゴプラザンはEE試験とNERD試験の両方で全ての主要評価項目と副次評価項目を達成した。特にEE試験では、全体患者群および中等度から重度の疾患を有する患者群において、2週間および8週間の治癒率について、PPI（lansoprazole）に対して統計学的優越性が示された。またNERD試験では、テゴプラザンが胸焼けと胃酸逆流症状を完全に改善する有効性が確認された。

また、TRIUMpH試験の各試験における治療関連有害事象の発生率は3%以下であり、一般に軽度かつ一過性であった。各試験における重篤な治療関連有害事象の発生率は2%以下であり、テゴプラザンとPPIおよびプラセボ対照群間で同等であった。テゴプラザンとlansoprazoleの血清ガストリン平均値は、治療期間中正常範囲（0-180 pg/ml）内に維持された。Braintree社は、TRIUMpH試験のうちEE試験を2025年第3四半期に完了し、EEおよびNERDの両方を適応症として2025年第4四半期に米国FDAに承認申請を提出する予定である。

同社は2010年9月、CJ HealthCare Corporation（現 HKイノエン社）との間で、テゴプラザンの東アジア地域を対象とした開発・製造および販売の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結し、2019年11月には北米・欧州を対象とした提携拡大契約を締結した。2021年12月に、HKイノエン社は米国Sebela社の一部門である消化器疾患治療薬専門企業のBraintree社との間で、米国およびカナダにおける独占的な開発・製造および販売権に関するライセンス契約を締結している。

同社によれば、世界の消化性潰瘍治療剤の市場規模は約2兆円で、米国はそのうちおよそ20%を占めていると推測される。現在、北米地域での胃食道逆流症の治療には主にPPIが用いられているが、PPIでは効果がみられない胸焼け症状や食道粘膜障害を持つ患者が約40%を占めるなど、PPIを用いた治療の限界が指摘されている。そのため、テゴプラザンが胃食道逆流症治療の新たな選択肢としてこれらの未充足ニーズの解消に貢献することを同社は期待している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。本件に伴うHKイノエン社からの一時金の受領はないものの、テゴプラザンの更なる進展により中長期的な価値向上に資するものと同社は考える。

テムリック社と米国Syros社のライセンス契約の終了に関して発表

2025年4月11日

ラクオリア創薬株式会社は、同社連結子会社のテムリック株式会社（以下 テムリック社）と、Syros Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ SYRS、以下 シロス社) との間で締結したレチノイン酸受容体 α 作動薬（タミバロテン）に関するライセンス契約（以下 同ライセンス契約）を終了した、と発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

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シロス社に許諾するライセンス契約を締結した。シロス社は、RARA遺伝子が過剰発現しているHR-MDS患者を対象とした第III相臨床試験（SELECT-MDS-1試験）を実施していたが、2024年11月12日（現地時間）、同試験において、主要評価項目である完全奏効率（CR率）が達成できなかったこと、および同試験を中止する予定であることを発表した。さらに、2025年2月28日（現地時間）、シロス社は、事業を縮小して支出を制限すること、ならびに米国NASDAQ株式市場からの自主的な上場廃止および普通株式の登録抹消を進める意向であることを発表した。

両社間でタミバロテンの今後の事業戦略について協議した結果、双方の合意により同ライセンス契約を終了することとした。同ライセンス契約の終了に伴い、同ライセンス契約に基づいてテムリック社がシロス社に付与していたタミバロテンに関する開発販売権はテムリック社に返還される。同社によると、同ライセンス契約の終了に伴う金銭の授受はない。

なお、本件による2025年12月期通期業績予想への影響はなく、テムリック社は今後、シロス社が実施した臨床試験データを検証し、今後のタミバロテンのあらゆる可能性について検討を進めていく、と同社は説明している。

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、愛知県知多郡に同社設立 |
| 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ブロッカーの韓国、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 | 創薬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ブ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 | 創薬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 [®] 、ペット用医薬品）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ン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ブロッカー（テゴブラザン、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 [™] 、ペット用医薬品）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ン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上場区分「グロース市場」に上場 |
| 2023年1月 | 湘南ヘルスイノベーションパーク（神奈川県藤沢市）に新たな研究施設を設置 |
| 2023年4月 | Vetbiolix SASと5-HT4作動薬に関するペット用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約を締結 |
| 2024年3月 | ファイメクス株式会社の全株式を取得し、連結子会社化 |
| 2025年3月 | HKイノエン社と資本業務提携契約を締結 |
| 2026年1月 | テムリック株式会社を吸収合併 |

出所：会社資料よりSR社作成

ファイザーの日本法人中央研究所が前身

2023年の医薬品売上高世界3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、2024年12月期末時点では同社の株式の3.40%をファイザー社が保有する。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。

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 | 8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 | 6名 |
| 社外取締役のうち独立役員に指定されている人数 | 4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 |
| 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、子会社の従業員 |
| 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（2026年3月現在）

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。2026年3月にはサステナビリティ委員会を設置し、ESGに関する基本方針の審議、重要課題（マテリアリティ）および全社横断施策の統轄、進捗管理を行っている。

トップマネジメント

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。

同社は2025年2月、前代表取締役であった武内博文氏の退任を発表し、同年3月25日開催予定の定時株主総会における承認を経て、正式に決定された。これに先立ち、同年1月には代表取締役の後任として、創薬研究に関する豊富な実務経験と知識を有し、取締役執行役員（経営管理担当）として人事総務、中期経営計画の策定、IRなど、会社全体の戦略策定と実行に携わってきた、須藤正樹氏が就任した。須藤氏は2025年12月末現在、同社株式を30,232株所有している。

代表取締役 須藤 正樹（1971年7月29日生）

| | | |
|-------|-----|---------------------------------|
| 1996年 | 4月 | 帝人株式会社 入社 |
| 1999年 | 9月 | ファイザー製薬株式会社（現 ファイザー株式会社） 入社 |
| 2004年 | 4月 | ファイザー製薬株式会社 中央研究所 化学研究統括部 主任研究員 |
| 2006年 | 4月 | ファイザー製薬株式会社 中央研究所 化学研究統括部 主幹研究員 |
| 2008年 | 7月 | 同社 入社 研究部門 プリンシパルサイエンティスト |
| 2012年 | 10月 | 同社 創薬研究部門 化学研究部 部長 |
| 2016年 | 4月 | 名古屋大学 トランスフォーメティブ生命分子研究所 特任准教授 |
| 2018年 | 7月 | 名古屋大学 客員教授 |
| | 7月 | 株式会社幹細胞&デバイス研究所 事業企画室長 |
| 2020年 | 1月 | 株式会社幹細胞&デバイス研究所 事業開発部長 |
| 2021年 | 6月 | 同社 入社 事業戦略部長 |
| | 10月 | 同社 執行役員（管理・経営企画担当） |
| 2022年 | 3月 | 同社 取締役 |
| 2023年 | 3月 | テムリック株式会社 取締役 |
| | 4月 | 同社 執行役員（経営管理担当） |
| 2025年 | 1月 | 同社 代表取締役（現任） |
| | 3月 | テムリック株式会社 代表取締役 |
| 2026年 | 3月 | ファイメクス株式会社 取締役（現任） |

出所：会社資料よりSR社作成

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。また、自社株買いについては機動的に検討する方針である。

大株主

| 大株主の状況 | 所有株式数（株） | 所有株式数の割合 |
|-------------------------------------|-----------|----------|
| KOREA SECURITIES DEPOSITORY-SAMSUNG | 2,594,100 | 10.61% |
| 柿沼 佑一 | 2,384,700 | 9.75% |
| ファイザー株式会社 | 743,000 | 3.04% |
| モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社 | 294,807 | 1.21% |
| 株式会社エス・ビー・シー | 251,300 | 1.03% |
| 株式会社アドバンスト・メディア | 223,800 | 0.92% |
| 東京短資株式会社 | 221,500 | 0.91% |
| 田名後 貴裕 | 169,500 | 0.69% |
| 香本 育良 | 157,000 | 0.64% |
| 野村證券株式会社 | 156,798 | 0.64% |
| 計 | 7,196,505 | 29.42% |

出所：会社資料よりSR社作成（2025年12月31日現在）

* 持株比率は自己株式181株を除いて算出

2025年12月期末における発行済株式総数は、24,458,673株となった。なお、KOREA SECURITIES DEPOSITORY-SAMSUNG（名義人）の所有株式数のうち、2,592,100株はHKイノエン社が実質株主として保有している。

従業員数

| | 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 | 24年12月期 | 25年12月期 |
|------------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|
| 連結従業員（人） | - | 60 | 63 | 68 | 70 | 67 | 65 | 67 | 85 | 85 |
| 単体従業員（人） | 50 | 55 | 58 | 62 | 64 | 62 | 62 | 64 | 64 | 64 |
| 平均年齢（歳） | 44.8 | 45.5 | 45.5 | 46.3 | 47.3 | 46.5 | 47.5 | 46.4 | 48.2 | 48.1 |
| 平均勤続年数（年） | 6.6 | 7.0 | 6.9 | 7.4 | 8.1 | 8.7 | 10.7 | 8.9 | 10.4 | 10.1 |
| 平均年間給与（千円） | 7,242 | 7,391 | 7,408 | 7,237 | 7,510 | 7,369 | 7,033 | 7,264 | 7,427 | |


出所：会社資料よりSR社作成、空欄は非開示


2024年12月期に連結従業員数が増加したのは、同年3月にファイメクス社を連結子会社化したことによる。同社単体の従業員64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出などの事業開発と管理業務を行っている。また、管理職に占める女性の割合は、13.6%（前期比8.9%ポイント上昇）であった。

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

 東京都千代田区神田猿樂町2丁目6-10

 +81 (0)3 5834-8787

 info@sharedresearch.jp

 <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もありません。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。