

4579

# ラクオリア創薬

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



# 目次

要約	3
主要経営指標の推移	6
直近更新内容	7
業績動向	10
四半期実績推移	10
事業内容	16
ビジネスモデルの概要	16
パイプラインの概要	20
市場とバリューチェーン	33
競合他社動向	35
SW (Strengths, Weaknesses) 分析	37
過去の業績と財務諸表	39
損益計算書	39
貸借対照表	39
キャッシュフロー計算書	40
過去の業績	41
その他の情報	46
企業概要	48

# 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（臨床第Ⅱ相試験）までを、同社が行う創薬ステージと捉えており、疼痛、消化器疾患、がん・免疫領域などの幅広い領域をターゲットとした新薬開発を行っている。同社の事業収益（売上高）は、導出先の企業から契約一時金、マイルストーン収入、導出先が上市した後の売上に対応したロイヤルティ収入、共同研究に伴う協力金などで構成される。既に4製品が導出先から上市されており、長期的かつ安定的なロイヤルティ収入が主要な財源となっている。2021年12月期の事業収益は2,776百万円で、そのうち5割強をロイヤルティ収入、4割強を契約一時金やマイルストーン収入が占める。

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

同社は、導出先企業が上市済みの4品目（tegoprazan（K-CAB<sup>®</sup>、以下、テゴプラザン）、GALLIPRANT<sup>®</sup>、ENTYCE<sup>®</sup>、ELURA<sup>®</sup>）に加え、導出済のパイプライン10本、導出準備パイプライン6本を有する。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\*<sup>2</sup>）である。2010年9月に韓国のCJ CheilJedang Corporation（現・HK inno.N Corporation（195940、KOSDAQ）、以下、HKイノエン社）に韓国、香港を含む中国、台湾地域における商用化の導出契約を締結した。2019年以降徐々に地域を拡大して、日本を除いた全世界における権利をHKイノエン社に供与している。HKイノエン社は韓国でK-CAB<sup>®</sup>を上市し、2028年までに世界100カ国への進出を目指す。なお、中国ではHKイノエン社のサブライセンス先が2022年4月にテゴプラザンを上市しており、モンゴルとフィリピンでも同様にサブライセンス先が承認を取得して販売準備中である。

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

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

GALLIPRANT<sup>®</sup>（ガリプラント）、ENTYCE<sup>®</sup>（エンタイス）、ELURA<sup>®</sup>（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<sup>®</sup>の2021年12月期の売上高は100百万米ドル（約12,500百万円）に達し、エランコ社史上10個目のブロックバスターとなった。

同社は、新薬上市の成功確率向上とバリューアップのため、テゴプラザンとグレリン受容体作動薬の2つのプログラムについては自社開発を進める方針である。テゴプラザンについては、2021年12月期までにHKイノエン社に日本以外における権利を導出したが、日本における権利は同社が有する。臨床第Ⅰ相試験にあたる臨床薬理試験を準備中で、2023年12月期に薬理試験を終了、2024年12月期に導出する考えで、導出先を模索中である。また、がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発を進めているグレリン受容体作動薬も、2023年末までに同社による前臨床試験を完了する予定である。

2021年3月から新しい経営体制となり、疼痛・消化器中心だった疾患領域を、神経疾患へ拡大した。2022年12月期現在はアンメットメディカルニーズ\*が大きい神経変性疾患、遺伝病、希少疾患などを重点領域として、恒常的に新薬を創出する方針である。前経営陣は非臨床準備段階での導出を目指していたが、上市確率が低い開発初期段階での導出は、成約の確率が低だけでなく、契約一時金やマイルストーン収入、販売ロイヤルティレートが低く設定されてしまう。そのため同社は、POC\*<sup>2</sup>（Proof of Concept）が得られるまで自社開発を行った上で、ライセンスアウトする方針に変更した。

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

\*<sup>2</sup> 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（コンセプト）が、ヒトに投与されて実証され、認められること。創薬においては、3段階の臨床試験のうち第II相試験で、候補物質が少数の患者に対して実際の治療効果を示すか否かを、適切な指標を用いて実証する。

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

## 業績動向

2021年12月期実績は、事業収益2,776百万円（前期比150.7%増）、営業利益708百万円（前期は486百万円の損失）、経常利益864百万円（同527百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純利益756百万円（同607百万円の損失）。HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（テゴプラザン、K-CAB<sup>®</sup>）の販売拡大が進み、Elanco社のペット用医薬品、GALLIPRANT<sup>®</sup>、ENTYCE<sup>®</sup>、ELURA<sup>®</sup>の販売が堅調に推移した。これら上市品4品目からのロイヤルティ収入の堅調な推移に加え、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、2008年の創業以来初の営業黒字を達成した。

2022年12月期会社予想は、2022年11月17日付で上方修正された。修正後の見通しは、事業収益3,075百万円（前期比10.8%増）、営業利益824百万円（同16.4%増）、経常利益909百万円（5.2%増）、親会社株主に帰属する当期純利益724百万円（4.2%減）。修正予想には、達成割合を勘案して半額を期初予想に想定していた、P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入4百万米ドル（500百万円）の全額と、円安による影響額147百万円を織り込んだ。想定為替レートは、1米ドル125円から135円に修正した。

同社は2022年12月期の業績予想修正と同時（同年11月17日付）に、事業環境の変化および事業の進捗に基づき、2022年12月期から2024年12月期までの3年間の中期経営計画を再度修正した。最終年度の目標は、事業収益3,752百万円（3年間CAGR10.6%）、営業利益1,248百万円（同20.8%）、経常利益1,238百万円（同12.7%）、当期純利益990百万円（同9.4%）。営業利益と比べて経常利益以下のCAGRが低いのは、2021年12月期に146百万円の為替差益を計上したため。修正の背景は、主として2022年12月期および2023年12月期におけるマイルストーン収入の増減と、為替相場の変動を勘案して計画レートを1米ドル125円から135円に修正した影響額を織り込んだことによる。

## 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。

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

一方、弱みは以下の3点だと考える。

- ▶ 創薬モダリティ\*（創薬手法）が低分子に偏っていること

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

- ▶ マイルストーンやロイヤルティはライセンス先の開発の進捗や業績によるため、収益の多寡や時期のコントロールができないこと
- ▶ 研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

# 主要経営指標の推移

損益計算書 (百万円)	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	非連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	会予
事業収益	29	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776	3,075
前年比	-95.8%	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.7%	-35.0%	150.7%	10.8%
事業費用	2,666	2,366	2,276	2,010	1,465	1,570	1,820	1,719	1,593	2,068	2,251
前年比	2.5%	-11.2%	-3.8%	-11.7%	-27.1%	7.1%	15.9%	-5.5%	-7.3%	29.8%	8.8%
営業利益	-2,637	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708	824
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	16.4%
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	25.5%	26.8%
経常利益	-2,891	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864	909
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	5.2%
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	1.3%	-	31.1%	29.6%
当期純利益	-2,905	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756	724
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-4.2%
純利益率	-	-	-	-	-	-	-	0.3%	-	27.2%	23.5%
<b>一株当たりデータ (円、株式分割調整後)</b>											
期末発行済株式数 (千株)	13,267	13,557	14,857	18,767	18,767	20,295	20,388	20,950	20,952	20,955	-
EPS (円)	-219.0	-82.7	-45.7	-116.5	-38.8	-3.0	-54.2	0.3	-29.0	36.1	34.6
EPS (潜在株式調整後) (円)	-	-	-	-	-	-	-	0.3	-	36.0	-
DPS (円)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
BPS (円)	400	424	315	240	201	240	189	220	191	228	-
<b>貸借対照表 (百万円)</b>											
現金・預金・有価証券	4,890	4,035	1,891	1,840	1,428	2,268	1,671	2,174	1,394	2,345	-
流動資産合計	5,090	4,364	3,261	2,708	1,806	3,322	1,962	3,067	2,834	4,004	-
有形固定資産	101	7	85	261	249	216	318	249	333	299	-
投資その他の資産計	289	2,266	1,844	1,769	1,951	1,516	1,738	1,488	1,051	897	-
無形固定資産	21	12	12	14	13	10	34	32	33	34	-
資産合計	5,501	6,648	5,202	4,752	4,019	5,064	4,052	4,837	4,251	5,234	-
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	1	1	18	22	-
流動負債合計	183	233	262	200	190	149	164	183	187	401	-
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	2	2	27	18	-
固定負債合計	7	669	109	38	41	27	31	33	53	46	-
負債合計	191	902	371	238	231	176	195	216	240	446	-
自己資本	5,310	5,713	4,821	4,503	3,773	4,871	3,845	4,608	3,999	4,777	-
純資産合計	5,310	5,746	4,831	4,514	3,788	4,888	3,857	4,621	4,011	4,788	-
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	3	2	46	39	-
<b>キャッシュフロー計算書 (百万円)</b>											
営業活動によるキャッシュフロー	-2,729	-2,179	-2,081	-2,117	-681	-307	-404	-531	-289	366	-
投資活動によるキャッシュフロー	3,741	952	-796	666	-441	534	-368	216	225	-279	-
財務活動によるキャッシュフロー	-	309	762	1,702	-	1,007	99	696	-7	-16	-
<b>財務指標</b>											
総資産経常利益率 (ROA)	-41.7%	-30.0%	-32.8%	-36.1%	-16.4%	-1.8%	-23.4%	0.5%	-11.6%	18.2%	-
自己資本純利益率 (ROE)	-43.1%	-20.1%	-8.8%	-39.8%	-17.6%	-1.3%	-25.3%	0.1%	-14.1%	17.2%	-
自己資本比率	96.5%	85.9%	92.7%	94.8%	93.9%	96.2%	94.9%	95.3%	94.1%	91.3%	-

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

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

2022年12月12日

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

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

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

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

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

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

# P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始および旭化成ファーマからの一時金受領、事業計画及び成長可能性に関する事項の修正、2022年12月期 通期連結業績予想の修正

2022年11月17日

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

出所：会社資料よりSR社作成

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

## 2022年12月期通期連結業績予想の修正

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

## 修正の理由

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



# 胃食道逆流症治療薬tegoprazanの米国における第III相臨床試験開始

2022年10月20日

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

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

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

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

## 胃食道逆流症治療薬tegoprazanのインドネシアにおける販売承認

2022年10月12日

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

(リリースへのリンクは[こちら](#))

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

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

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

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

# 業績動向

## 四半期実績推移

四半期業績推移 (累計)	20年12月期				21年12月期				22年12月期			22年12月期	
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	進捗率	通期会予
事業収益	124	373	574	1,107	656	1,321	1,623	2,776	339	1,447	1,904	61.9%	3,075
前年同期比	-64.5%	-31.7%	-19.0%	-35.0%	430.7%	254.3%	183.0%	150.7%	-48.3%	9.6%	17.3%		10.8%
事業費用	397	776	1,174	1,593	507	1,006	1,516	2,068	459	896	1,403	62.3%	2,251
前年同期比	-12.2%	-8.5%	-5.5%	-7.3%	27.6%	29.6%	29.1%	29.8%	-9.4%	-10.9%	-7.4%		8.8%
事業費比率	321.3%	208.3%	204.7%	143.9%	77.3%	76.2%	93.4%	74.5%	135.3%	61.9%	73.7%		
研究開発費	224	451	675	932	256	497	781	1,127	264	528	840		
前年同期比	6.7%	4.8%	5.7%	7.9%	14.4%	10.2%	15.6%	20.9%	3.0%	6.4%	7.6%		
研究開発費比率	181.1%	120.9%	117.7%	84.2%	39.0%	37.6%	48.1%	40.6%	77.7%	36.5%	44.1%		
営業利益	-273	-403	-601	-486	149	315	107	708	-120	551	501	60.8%	824
前年同期比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	75.1%	367.6%		16.4%
営業利益率	-	-	-	-	22.7%	23.8%	6.6%	25.5%	-	38.1%	26.3%		26.8%
経常利益	-268	-403	-615	-528	268	433	238	864	-70	681	676	74.4%	909
前年同期比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	57.4%	183.8%		5.2%
経常利益率	-	-	-	-	40.9%	32.8%	14.7%	31.1%	-	47.1%	35.5%		29.6%
四半期純利益	-328	-459	-699	-607	189	303	169	756	-121	469	467	64.5%	724
前年同期比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	55.0%	175.9%		-4.2%
四半期純利益率	-	-	-	-	28.8%	22.9%	10.4%	27.2%	-	32.4%	24.5%		23.5%
四半期業績推移	20年12月期				21年12月期				22年12月期				
(百万円)	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q		
事業収益	124	249	201	534	656	665	302	1,153	339	1,108	457		
前年同期比	-64.5%	26.0%	23.6%	-46.3%	430.7%	166.9%	50.6%	116.0%	-48.3%	66.6%	51.1%		
事業費用	397	379	398	419	507	499	510	552	459	437	507		
前年同期比	157.7%	183.8%	165.0%	172.2%	27.6%	31.6%	28.2%	31.8%	-9.4%	-12.5%	-0.6%		
事業費比率	321.3%	152.2%	198.2%	78.5%	77.3%	75.0%	168.7%	47.9%	135.3%	39.4%	111.0%		
研究開発費	224	227	224	257	256	241	284	347	264	265	312		
前年同期比	6.7%	2.9%	7.5%	14.2%	14.4%	6.0%	26.6%	34.7%	3.0%	10.0%	9.8%		
研究開発費比率	181.1%	91.1%	111.7%	48.2%	39.0%	36.2%	93.9%	30.1%	77.7%	23.9%	68.2%		
営業利益	-273	-130	-197	115	149	166	-208	601	-120	671	-50		
前年同期比	162.3%	-34.4%	-14.7%	-77.9%	-	-	-	423.7%	-	304.5%	-		
営業利益率	-	-	-	21.5%	22.7%	25.0%	-	52.1%	-	60.6%	-		
経常利益	-268	-135	-213	88	268	165	-195	626	-70	751	-5		
前年同期比	180.9%	-36.5%	-3.5%	-84.2%	-	-	-	614.1%	-	356.5%	-		
経常利益率	-	-	-	16.4%	40.9%	24.8%	-	54.3%	-	67.8%	-		
四半期純利益	-328	-131	-239	92	189	114	-133	586	-121	590	-2		
前年同期比	218.8%	-36.6%	7.8%	-82.9%	-	-	-	539.8%	-	416.8%	-		
四半期純利益率	-	-	-	17.2%	28.8%	17.2%	-	50.9%	-	53.3%	-		

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。

## 2022年12月期第3四半期累計実績 (2022年11月11日発表)

### 業績概要

#### 2022年12月期第3四半期 (2022年1月～9月) 累計実績

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

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

#### 増収増益の要因

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

ペット用医薬品は、GALLIPRANT®、ENTYCE®/ELURA®の売上が堅調に推移した。テゴブラザン (K-CAB®) は、口腔内崩壊錠が発売され、5つ目の適応症 (びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法) が承認されたこともあり、韓国における売上が引き続き好調であった。HKイノエン社のライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd. (002793、SHE、以下、Luoxin社) が中国において製造販売承認を取得して販売を開始した。また、同社が株

株式会社AskAt（非上場、以下、AskAt社）に導出したシクロオキシゲナーゼ阻害薬（COX-2阻害薬）について、AskAt社が米国のVelo-1, Inc.（非上場、以下、Velo-1社）との間でライセンス契約および開発サポート契約を締結し、同社は一時金を受領した。

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

## パイプラインの状況

### 上市品の状況

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

### テゴブラザンの世界各国における展開

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

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

## 導出済パイプライン（開発中）の状況

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

### 導出済プログラム（ヒト）

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

### 導出済プログラム（ペット）

- COX-2阻害薬：AskAt社の導出先であるVelo-1社が開発準備中

## 導出準備パイプラインの状況

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

- テゴブラザン（日本）：臨床開発に向けた準備および提携先候補の探索に関する取り組みを実施

- グレリン受容体作動薬：外部委託による前臨床試験を実施中
- 5-HT4部分作動薬、5-HT2B拮抗薬、モチリン受容体作動薬：導出活動を継続中
- TRPM8遮断薬：前臨床試験検討中

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

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

## 2022年12月期通期見通し

(百万円)	20年12月期			21年12月期			22年12月期		
	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期会予	通期会予
事業収益	373	735	1,107	1,321	1,456	2,776	1,447	1,628	3,075
前年同期比	-31.7%	-36.5%	-35.0%	254.3%	98.2%	150.7%	9.6%	11.8%	10.8%
事業費用	776	817	1,593	1,006	1,063	2,068	896	1,355	2,251
前年同期比	-8.5%	-6.1%	-7.3%	29.6%	30.0%	29.8%	-10.9%	27.5%	8.8%
売上原価	58	80	138	175	146	321	105		
前年同期比	-55.6%	-39.4%	-47.5%	201.8%	82.1%	132.4%	-40.2%		
研究開発費	451	482	932	497	631	1,127	528		
前年同期比	4.8%	11.0%	7.9%	10.2%	30.9%	20.9%	6.4%		
研究開発費比率	120.9%	65.6%	84.2%	37.6%	43.3%	40.6%	36.5%		
販売費及び一般管理費	268	255	523	334	286	620	263		
前年同期比	-7.0%	-16.1%	-11.6%	24.9%	12.0%	18.6%	-21.4%		
販管費比率	71.8%	34.7%	47.2%	25.3%	19.6%	22.3%	18.2%		
営業利益	-403	-83	-486	315	393	708	551	273	824
前年同期比	-	-	-	-	-	-	75.1%	-	16.4%
営業利益率	-	-	-	23.8%	27.0%	25.5%	38.1%	16.7%	26.8%
経常利益	-403	-125	-528	433	431	864	681	228	909
前年同期比	-	-	-	-	-	-	57.4%	-	5.2%
経常利益率	-	-	-	32.8%	29.6%	31.1%	47.1%	14.0%	29.6%
当期純利益	-459	-148	-607	303	453	756	469	255	724
前年同期比	-	-	-	-	-	-	55.0%	-	-4.2%
純利益率	-	-	-	22.9%	31.1%	27.2%	32.4%	15.6%	23.5%

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。

\*\*2022年12月期上期予想は社内管理の数値であり、第2四半期の会社予想として開示されていない。

## 2022年12月期通期（2022年1月～12月）会社予想（2022年11月17日発表）

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

2022年12月期会社予想は、2022年11月17日付で上方修正された。修正後の見通しは、事業収益3,075百万円（前期比10.8%増）、営業利益824百万円（同16.4%増）、経常利益909百万円（5.2%増）、親会社株主に帰属する当期純利益724百万円（4.2%減）。修正予想には、達成割合を勘案して半額を期初予想に想定していた、P2X7受容体拮抗薬の第II相臨床試験開始によるマイルストーン収入4百万米ドル（500百万円）の全額と、円安による影響額147百万円を織り込んだ。想定為替レートは、1米ドル125円から135円に修正された。

## 業績予想の前提

### 上市済4製品のロイヤルティは好調

2022年12月期の事業収益について同社は、胃食道逆流症治療薬「tegoprazan」、犬の変形関節症治療薬「GALLIPRANT®」、犬の食欲不振症治療薬「ENTYCE®」の販売が堅調に推移するとみている。販売ロイヤルティ1,613百万円（前期比ー）に加え、テゴプラザンの中国における上市によるマイルストンの受領などでその他収入1,462百万円（同ー）を同社は見込んでいる。

上期には、テゴプラザンとペット用医薬品の販売ロイヤルティで698百万円（前年同期比43.0%増）、マイルストーン達成に伴う一時金とその他収益で748百万円（同10.1%減）を計上、第3四半期（2022年6月～9月）にはテゴプラザンとペット用医薬品の販売ロイヤルティで385百万円（同153.3%増）、AskAt社による動物薬ライセンス（COX-2阻害薬）の

一時金などによりその他の収益は72百万円（同52.3%減）を計上した。第4四半期には、テゴブラザンならびにペット用医薬品の販売ロイヤルティ530百万円（同一）とその他収入642百万円（同一）を見込んでいる。

2022年4月にHKイノエン社のサブライセンス先であるLuoxin社により行われたテゴブラザンの承認申請が、中国当局に承認された。それからわずか15日で、Luoxin社がテゴブラザン（商品名：泰欣贊®（タイシンザン））の販売を開始した。2022年12月期の事業収益予想には、半年程度前倒して販売開始となったテゴブラザンの中国におけるロイヤルティ収入を一部含んでいる。モンゴルにおいてもHKイノエン社のサブライセンス先であるMonos Pharma LLC（非上場、以下、Monos社）がテゴブラザンの承認を取得しており、販売開始に向けて商品供給が開始された。2022年5月には、HKイノエン社のサブライセンス先であるMetro Pharma Philippines, Inc.（非上場、以下、Metro社）が、フィリピンで承認を取得した。さらに、インドネシアにおいても同年10月、非びらん性胃食道逆流症を適応症として販売承認を取得した。

### 一時金を受領

2022年7月には、同社が創出したシクロオキシゲナーゼ-2（COX-2）阻害剤（RQ-00317076）の導出先であるAskAt社が、米国Velo-1社と全世界を対象とした動物用医薬品のライセンス契約および2年間の開発サポート契約を締結した。同社はAskAt社がRQ-00317076から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有しており、本件に伴い一時金を受領して第3四半期の事業収益として計上された。

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

### 減益要因は研究開発費の増加

今期減益を見込んでいるのは、導出準備中の2つのプログラム、テゴブラザンとグレリン受容体作動薬について、自社開発を実施するためである。同社はテゴブラザンの価値の最大化を企図して、日本において韓国データを活用した迅速かつ効率的な開発・承認取得のため臨床薬理試験の準備中で、治験相談に向けてPMDAとの交渉を開始した。グレリン受容体作動薬についても、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。

研究開発費については、探索研究などに1,163百万円、前臨床開発および臨床試験に311百万円、計1,474百万円（前期比30.7%増）を予定する。そのうち、グレリン受容体作動薬の前臨床試験およびテゴブラザンの開発に271百万円を投資し、開発候補化合物の創出と新領域・新技術の開拓のため、400百万円を投資する計画である。業績予想修正後の研究開発費は開示されていないが、事業費用は通期で2,251百万円（同8.8%増）を予想している。

### テゴブラザンは米国で臨床第II相試験をスキップ

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

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

## 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)	12年12月期 非連結	13年12月期 連結	14年12月期 連結	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
事業収益 (期初予想)	1,636~2,178	1,014	300	600	950	1,100	1,388	2,022	2,129	2,738
事業収益 (実績)	29	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776
期初会社予想と実績の差異	-	-77.5%	-48.7%	-75.8%	-25.8%	29.0%	-46.4%	-15.8%	-48.0%	1.4%
営業利益 (期初予想)	-1,666 ~-1,168	-1,082	-1,684	-1,395	-819	-760	-698	187	70	420
営業利益 (実績)	-2,637	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-	-	-	68.5%
経常利益 (期初予想)	-1,647 ~-1,148	-1,071	-1,685	-1,415	-819	-761	-680	195	85	427
経常利益 (実績)	-2,891	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-	-88.9%	-	102.3%
当期純利益 (期初予想)	-1,700 ~-1,202	-1,075	-282	-1,661	-825	-767	-686	153	13	343
当期純利益 (実績)	-2,905	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756
期初会社予想と実績の差異	-	-	-	-	-	-	-	-96.5%	-	120.3%

出所：会社データよりSR社作成

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

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

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

## 中期事業計画（2022年12月期～2024年12月期）

(百万円)	21年12月期 連結	22年12月期 修正後会予	23年12月期 見直し前計画	24年12月期 見直し前計画	23年12月期 見直し後計画	24年12月期 見直し後計画	3年間 CAGR
事業収益	2,776	3,075	3,069	3,645	2,957	3,752	
前年比	150.7%	10.8%	-0.2%	18.8%	-3.6%	26.9%	10.6%
事業費用	2,068	2,251	2,675	2,478	2,691	2,504	
前年比	29.8%	8.8%	18.8%	-7.4%	0.6%	-6.9%	6.6%
事業費比率	74.5%	73.2%	87.2%	68.0%	91.0%	66.7%	
営業利益	708	824	393	1,167	266	1,248	
前年比	-	16.4%	-52.3%	196.9%	-32.3%	369.2%	20.8%
営業利益率	25.5%	26.8%	12.8%	32.0%	9.0%	33.3%	
経常利益	864	909	403	1,174	256	1,238	
前年比	-	5.2%	-55.7%	191.3%	-36.5%	383.6%	12.7%
経常利益率	31.1%	29.6%	13.1%	32.2%	8.7%	33.0%	
当期純利益	756	724	327	970	204	990	
前年比	-	-4.2%	-54.8%	196.6%	-37.6%	385.3%	9.4%
当期純利益率	27.2%	23.5%	10.7%	26.6%	6.9%	26.4%	
為替想定 (米ドル円)	110.00	120.00 (上期) 135.00 (下期)	125.00	125.00	135.00	135.00	

出所：会社データよりSR社作成

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

## 2024年12月期までの目標設定を修正

### 3期連続黒字化達成と累計9,700百万円の事業収益獲得を目指す

同社は2022年11月、同年8月に修正した2022年12月期から2024年12月期までの3年間の中期経営計画を、さらに修正した。最終年度となる2024年12月期の数値目標は、事業収益3,752百万円（3年間CAGR10.8%）、営業利益1,248百万円（同20.8%）、経常利益1,238百万円（同12.7%）、当期純利益990百万円（同9.4%）。営業利益と比べて経常利益以下の段階利益でCAGRが低いのは、2021年12月期に146百万円の為替差益を計上したためである。

主な増減要因は、修正前には達成確率を勘案して2022年12月期と2023年12月期に250百万円ずつ事業収益に織り込んでいた、P2X7受容体拮抗薬に係るマイルストーン収入4千万米ドル（500百万円、1米ドル125円換算）である。2022年11月に第Ⅱ相臨床試験が開始されたことによりマイルストーンを達成したことで、2022年12月期に全額計上することになったことに加えて、為替相場の変動による影響額147億円を見込んでいる。事業費用については、同年8月発表の前回予想より66百万円の増加を予想する。

2023年12月期の事業収益については、前回予想より111百万円減少する見通しとなった。これは、P2X7受容体拮抗薬に係るマイルストーン収入の減額分250百万円と、為替変動による影響額138百万円を織り込んでいる。2024年12月期については、為替変動による影響額106百万円分を増加した。事業費用については、それぞれ前回予想より15百万円、25百万円の増加を見込む。

同社は、中期経営計画において、3年間の事業収益合計9,784百万円、営業利益合計2,338百万円を獲得し、引き続き3年間の黒字継続を目標とする。目標達成のため同社は、消化性潰瘍薬の潜在的な2兆円のグローバル市場（出所：同社）におけるテゴプラザンの成長に加え、研究開発投資の拡大による成長ドライバー品目への戦略的な投資を行う計画である。継続的な新薬創出のため、この3カ年計画において成長ドライバー品目への積極的な投資を行う方針である。2022年12月期から2023年12月期にかけて、2つのプログラムで自社開発を進めるため事業費用が増加することから減益を予想するが、安定的な事業収益を確保し、3期連続の営業黒字を見込む。

## 事業収益の見込

- ▶ 2022年12月期：テゴプラザンの韓国売り上げ拡大により販売ロイヤルティ1,613百万円に加え、テゴプラザンの中国における上市によるマイルストンの受領などで1,462百万円を見込む。
- ▶ 2023年12月期：テゴプラザンを中心に上市品が堅調に伸び、販売ロイヤルティ1,919百万円、導出済プログラムのマイルストーンや契約一時金などで1,038百万円を見込む。
- ▶ 2024年12月期：テゴプラザンの中国販売がさらに伸長し、販売ロイヤルティ2,074百万円、テゴプラザンの日本における導出を含む契約一時金などで1,678百万円を見込む。

## 3年間の研究・開発・導出目標

**研究：2024年12月期までに開発候補化合物1個を創出**

**開発：グレリン受容体作動薬の前臨床試験終了、テゴプラザンの臨床薬理試験の終了**

同社は、新薬上市の成功確率と期待収益を高めるため、2つのプログラム（グレリン受容体作動薬（RQ-00433412）とテゴプラザン）の開発を自社で進め、以下の3つのプログラムについては導出活動に注力する方針である。

### 自社開発プログラム

- ▶ グレリン受容体作動薬（RQ-00433412）：2023年末までに前臨床試験を完了
- ▶ テゴプラザン：2023年末までに臨床薬理試験を終了

### 現在の開発ステージでの導出を目指すプログラム

- ▶ 5-HT4部分作動薬（RQ-00000010、RQ-10）：臨床第Ⅰ相試験終了
- ▶ 5-HT2B拮抗薬（RQ-00310941、RQ-941）：臨床第Ⅰ相試験終了
- ▶ モチリン受容体作動薬（RQ-00201894、RQ-894）：前臨床試験終了

## 導出：毎年1件の新規導出契約締結

2021年は下期に2件の導出に成功したが、毎年1件コンスタントに導出を行う方針である。2022年12月期については、6本の導出準備プログラムの中で交渉が進んでいるものがあり、当期中の契約を目指している。

# 事業内容

## ビジネスモデルの概要

### ファイザーの日本法人中央研究所が前身

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

ファイザー社からは6つの探索プログラム、6つの開発プログラムのほか、アメリカで承認され上市されていた3製品、ジオドン®（ジブラシドン）、ダルバンス®（ダルババンシン）、エラキシス®（アニデュラファンギン）の日本における権利を譲受\*した。当時開発中であったテゴプラザン、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。

\*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ク（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-HT<sub>4</sub>、CB2、5-HT<sub>2B</sub>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。

## 同社の事業領域

### 探索研究から初期臨床開発までが同社の創業ステージ

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

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

## 医薬品の開発プロセス

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

### 医薬品開発に要する期間と成功確率

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



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

## 一般的な創薬プロセスと同社の事業領域

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

出所：会社資料よりSR社作成

## 新薬の成功確率

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

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

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

### 世界最速の研究サイクル：2週間

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

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

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

# 特許期間のマネジメント

## 数百件の保有特許の長期化を図る

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

## 医薬品関連特許の例

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

出所：日本ジェネリック製薬協会の資料よりSR社作成

## 経営陣の刷新と新たな取り組み

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

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

### 研究

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

### 開発

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

### 導出

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

## 新経営陣の方針転換による資金需要の増加

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

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

## 新規モダリティへの挑戦

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

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

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

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。

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。

## 収益構造

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

### 同社の収益構造

契約一時金収入	ライセンスアウトや共同研究開発の契約締結時に得られる収入。 同社が開発した新薬候補の価値とポテンシャルへの対価。
マイルストーン収入	導出先企業での研究開発の進展に応じて得られる収入。 次相臨床試験の開始や上市など、「新薬候補」を「新薬」にする過程で重要な障壁を超えることにより得られる。
ロイヤルティ収入	導出先企業による売上高に応じて得られる収入。 売上高が増加すると段階的に料率が増えるなど、契約条件によって異なる。
研究協力金収入	早期からの提携によって、新薬候補の創出に向けた共同研究を行う際に、提携先から得られる収入。同社の創薬技術に対する対価。

出所：会社資料よりSR社作成

## 地域別売上高推移

	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期
(百万円)	非連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
合計	29	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776
前年比	-95.8%	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.6%	-35.0%	150.7%
米国	2	88	-	-	646	818	278	761	549	1,004
前年比	-88.9%	3,726.4%	-	-	-	26.5%	-66.0%	173.8%	-27.8%	82.7%
構成比	8.0%	38.8%	-	-	91.6%	57.6%	37.3%	44.7%	49.6%	36.2%
日本	27	70	131	106	50	471	349	196	28	1,187
前年比	-55.6%	162.5%	86.9%	-19.4%	-52.6%	841.1%	-25.8%	-43.7%	-85.9%	4,175.6%
構成比	92.0%	30.7%	85.0%	72.5%	7.1%	33.2%	46.8%	11.5%	2.5%	42.8%
アジア	-	-	20	40	9	131	121	746	530	585
前年比	-	-	-	100.0%	-77.5%	1,355.0%	-7.8%	517.9%	-28.9%	10.3%
構成比	-	-	13.0%	27.5%	1.3%	9.2%	16.2%	43.8%	47.9%	21.1%
欧州	-	50	-	-	-	-	-	-	-	-
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
構成比	-	21.8%	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	-	20	3	-	-	-	-	-	-	-
前年比	-	-	-84.7%	-	-	-	-	-	-	-
構成比	-	8.8%	2.0%	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社資料よりSR社作成

\*売上高は顧客の所在地を基礎とし、国または地域に分類

既に4製品が導出先から上市されており、長期的かつ安定的なロイヤルティ収入が同社の主要な財源である。2021年12月期の事業収益2,776百万円のうち、5割強をロイヤルティ収入、4割強を契約一時金やマイルストーン収入が占める。

## パイプラインの概要

### 製薬会社基準の研究プロセスや業務手順に基づく豊富なパイプライン

同社は、前身のファイザー社中央研究所における創薬研究開発のノウハウや手法を受け継ぎ、また引き継いだ研究を継続しており、たくさんのシーズがあることから、次々と候補品を生み出すことができる。製薬企業基準のSOP（Standard Operating Procedures：標準業務手順書）に基づく高い技術力により、イオンチャン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<sup>®</sup>、ENTYCE<sup>®</sup>、ELURA<sup>®</sup>）に加え、イオンチャンネルを含む導出済プロジェクト10本、導出準備パイプライン6本の豊富な開発パイプラインを有している。

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

# 導出済パイプライン（ヒト）

## 導出済プログラム（ヒト）

プログラム名	一般名・化合物コード	導出先	主適応症	実施地域	開発段階
テゴプラザン（カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）K-CAB®）	RQ-00000004 (tegoprazan)	HKイノエン社（韓国）	胃食道逆流症	韓国	販売中（2019年3月上市）
				モンゴル	承認済、販売準備中
				中国	販売中（2022年4月上市）
				米国・カナダ	P1終了
				フィリピン	承認取得（2022年5月）
				メキシコ、タイ、ベトナム、インドネシア、シンガポール	承認審査中
中南米16カ国、マレーシア	承認申請準備中				
レチノイン酸受容体α作動薬	タミバロテン TM-411/SY-1425	シロス社	骨髓異形成症候群（MDS） 急性骨髄性白血病（AML）	米国	P3実施中
EP4拮抗薬	RQ-00000007 (grapiprant)	AskAt社	疼痛 がん	米国	P2実施中
				中国	P2前期終了
5-HT4部分作動薬	RQ-00000009	AskAt社	アルツハイマー病	米国	P1終了
COX-2阻害薬	RQ-00317076			中国	P1実施中
CB2作動薬	非開示	マルホ社	過敏性腸症候群に伴う疼痛	-	P1前期終了
選択的ナトリウムチャンネル遮断薬	非開示			-	P1実施中
P2X7受容体拮抗薬	非開示	旭化成ファーマ社	神経障害性疼痛	-	P1終了
特定のイオンチャンネル	非開示	EAファーマ社	消化器領域	-	非開示
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	Xgene Pharmaceutical（香港）	慢性疼痛	-	前臨床準備中
ナトリウムチャンネル遮断薬	RQ-00350215	久光製薬社	慢性疼痛	-	前臨床準備中

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

## カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB（一般名：テゴプラザン）

### 韓国HKイノエン社に日本以外の権利を導出済

テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD）\*を主な適応症とし、既存治療の主流であるプロトンポンプ阻害剤（PPI：Proton Pump Inhibitors）に代わる新薬である。ファイザー社から開発化合物として譲受し、テゴプラザンに関わったメンバーの中で同社に移籍した者が数多くいたため、創業後すぐに前臨床試験を開始した。米国における臨床第1相試験終了時点で、同社は2010年6月、韓国のHKイノエン社と消化器疾患領域における戦略的提携を開始し、同年9月に韓国、香港を含む中国、台湾地域におけるテゴプラザンの商用化の導出契約を締結した。2019年以降徐々に地域を拡大して、現在は日本を除いた全世界における権利を供与している。

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

### 武田の「タケキャブ®」が先行

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

## 韓国ではNo.1シェア

同社が導出したテゴプラザンは、HKイノエン社が2018年7月に韓国における製造販売の承認を獲得し、「K-CAB®」として2019年3月に販売を開始した。K-CAB®の韓国における2021年の販売額（院外処方）は1,096億ウォン（約10,960百万円、1韓国ウォン=0.1円換算）で、2019年からの年平均成長率は72%増と好調に推移し、韓国における消化性潰瘍薬市場シェア1位となっている。

## 韓国で販売中のK-CAB®



出所：HKイノエン社HP

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

2022年7月にはびらん性胃食道逆流症治療後の維持療法にかかる承認を取得し、K-CAB®は韓国で販売されているP-CABの中で最も多くの適応症を持つこととなった。テゴプラザンが韓国において製造販売承認を取得した適応症は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ヘリコバクター・ピロリ菌除菌補助療法、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法、の5つである。

## テゴプラザンの特徴

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

\*<sup>2</sup> 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高値で維持されると消化性潰瘍や神経内分泌腫瘍発生のリスクが高まるため、ガストリン値の上昇には注意が必要という報告がなされており、ガストリンが高値になると投薬中止となることがある。

## テゴプラザンの販売地域拡大による収益の拡大

### ライセンス先のHKイノエン社による販売拡大計画

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

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

### 販売地域拡大によりロイヤルティ収入の増加を見込む

テゴプラザンは2022年6月時点で、韓国、中国で販売されているほか、34カ国で開発・承認審査中・販売準備中である。モンゴルにおいても承認を取得しており、同年6月中に販売が開始される予定である。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。

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。現在韓国のほか、27カ国で開発・承認審査が進行中で、最も大きな市場は北米の400,000百万円、次いで中国310,000百万円である。前述の通り、米国・カナダではサブライセンス先が次相臨床試験の準備中、中国では販売が開始され、モンゴルでは販売準備中、フィリピンでは承認を取得した。また、審査中のメキシコにおいても、2023年に販売開始を見込んでいる。グローバル市場におけるテゴプラザンの獲得シェアを10%、ロイヤルティ料率5%と仮定すると、同社が受領するロイヤルティ収入は年間10,000百万円と同社は試算している。

### 同社が受領するロイヤルティの試算

					同社が受け取る	
グローバル潜在市場規模	×	獲得シェア	×	ロイヤルティ料率	=	ロイヤルティの
2兆円		韓国11%		一般的に1~10%		最大ポテンシャル

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	開発段階	発売年（見込）	市場規模
韓国	販売中	2019年	60,000百万円（600十億ウォン）
中国	販売中	2022年	350,000百万円（17十億元）
米国	臨床第III相試験実施中	非開示	400,000百万円
モンゴル	承認取得済・販売準備中	2022年	非開示
東南アジア	審査中	2022～2023年	46,000百万円（370百万ドル）
中南米	審査中（メキシコ） 申請準備中（その他16か国）	2022～2023年	非開示

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

### 中国における消化性潰瘍薬の成長可能性

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

### 胃食道逆流症の患者数・消化性潰瘍薬の市場規模

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

出所：会社資料よりSR社作成

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

### 中国における販売計画

中国では、Luoxin社が「泰欣贊®（タイシンザン）」という商品名でテゴプラザンを販売している。中国における革新的な医薬品を現す「分類1」での承認を2022年4月13日に取得後、わずか15日後の同年4月28日に販売を開始した。Luoxin社では、中国国内の主要な病院や小売り薬局における販売に加え、オンライン診療によるインターネット販売により、2023年に10億元（約19,600百万円、1中国元=19.6円換算）、中長期的には30億元（約58,800百万円、同）を売上目標としている。同社は2022年12月期第2四半期にマイルストーン収入として300百万円を受領しており、2022年12月期第3四半期以降は売上に応じたロイヤルティを受け取るようになる。

## EP4拮抗薬（RQ-00000007、grapiprant）

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

Ikena社は米国において、切除不能または進行性マイクロサテライト安定型大腸がん患者を対象に、2018年10月から臨床第I相拡大試験（フェーズ1b）を実施していたが、2022年11月に自社開発を中止し、戦略的な代替計画を検討すると発表した。grapiprantとキイトルーダ®（ペムプロリズマブ）との併用試験結果は、ヨーロッパ臨床腫瘍学会（ESMO）にて報告される予定。なお、2021年9月に開始された、転移性の炎症性乳がんに対するgrapiprantとハラヴェン®（エリプリン）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臨床第I相試験を終了した。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、がん領域で臨床第I相試験を実施中である。



## CB2作動薬 (RQ-00202730)

CB2作動薬は、ファイザーからテーマとして譲り受け、同社で創製した化合物である。2015年11月に提携を開始したAskAt社のライセンス先であるOCT社が、英国において前臨床試験を実施中である。

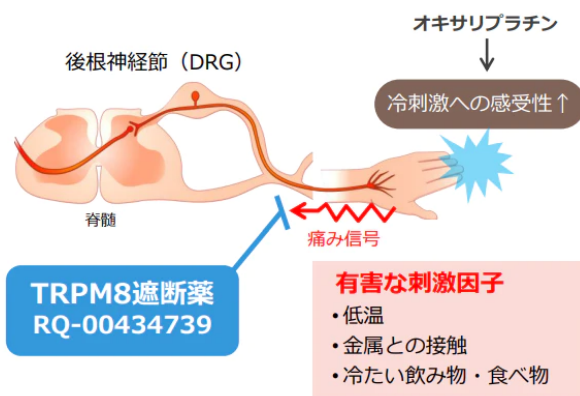
## P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479)

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臨床第Ⅰ相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、臨床第Ⅱ相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になっている。2022年11月、リリー社が臨床第Ⅱ相試験を開始してマイルストーンを達成し、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドル（約500百万円、1米ドル125円換算）を受領した。

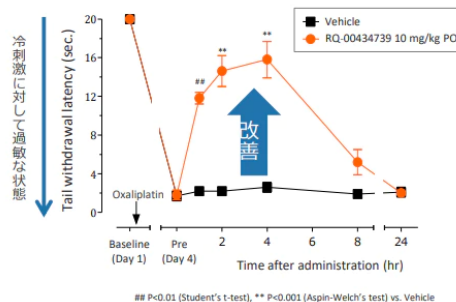
## TRPM8遮断薬 (RQ-00434739)

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

### TRPM8遮断薬の効果



### オキサリプラチン誘発性神経障害モデルにおけるRQ-00434739の効果



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ており、同社は契約一時金に加え、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売額に応じたロイヤルティ収入を受領することになっている（具体的な達成条件や金額については非開示）。

## ナトリウムチャンネル遮断薬 (RQ-00350215)

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

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

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

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

同社が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臨床第I相試験を実施している。

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

## 連結子会社テムリック社のパイプライン

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

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

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

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

\*オーファンドラッグとは希少疾病用医薬品のことで、需要が少ないため開発コストが回収できないことが多く、積極的に開発が行われなため、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。

テムリック社は2015年9月に、北米および欧州におけるタミバロテンのがん治療薬としての開発販売権を、米国シロス社に導出し、開発段階におけるマイルストーンおよび販売後のロイヤルティを受け取る権利を保有している。シロス社は、骨髄異形成症候群 (MDS) および急性骨髄性白血病 (AML) の患者の25%に発現するRAR $\alpha$ 遺伝子 (RARA) をバイオマーカーとした、プレジジョン・メディシン\* (高精度医療) としての新薬承認を目指す。シロス社は現在、米国において骨髄異形成症候群 (MDS) を対象とした臨床第III相試験と、急性骨髄性白血病 (AML) を対象とした臨床第II相試験を行っている。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臨床第III相臨床試験データを2023年12月期第4四半期ないしは2024年12月期第1四半期に公表し、2024年中にNDA申請を行う計画である。また、高齢者などで標準化学療法に適さないAML患者を対象に、ベネトクラクスとアザシチジンの3剤併用療法として行っている臨床第II相試験の中間結果は、2022年中に公表される予定である。

\*プレジジョン・メディシン（高精度医療）とは、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。

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\*<sup>2</sup>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。

\*<sup>2</sup>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。

同社は、日本においてもすい臓がん（PC）を対象とした医師主導治験として、名古屋大学において臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施している。同社はアジアの権利を保有しており、米国における開発の進展に合わせて、骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした日本と中国の権利と、すい臓がん（PC）を対象とした日本における権利の導出を目指している。

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

出所：会社資料よりSR社作成

## 導出済パイプライン（ペット）

### 3つの上市製品

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

### 導出済プログラム（ペット）

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

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

## GALLIPRANT®（EP4拮抗薬、一般名：グラピプラント）

犬の変形性関節症を適応症としたGALLIPRANT®（ガリプラント）は、2017年1月に米国で販売され、世界20カ国以上で米国エランコ社により販売されている。非ステロイド消炎鎮痛剤でファースト・イン・クラス（画期的医薬品）\*のGALLIPRANT®は、日本においても2020年10月に販売開始されて順調に販売を伸ばしている。2021年12月期の売上高は100百万米ドル（約12,500百万円）に達し、エランコ社史上10個目のブロックバスターとなった。

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

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

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

### ELURA®のポテンシャル

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

### 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

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

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

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

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

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

## 導出準備パイプライン

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

### 導出準備プログラム

プロジェクト名	一般名・化合物コード	主適応症	対象地域	開発段階
カリウムイオン競合型アシッドブロッカー (P-CAB)	tegoprazan RQ-00000004	胃食道逆流症	日本	P1準備中
5-HT4部分作動薬	RQ-000000010	胃不全麻痺・機能的胃腸症・慢性便秘	全世界	P1終了
5-HT2B拮抗薬	RQ-00310941	下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)	全世界	P1終了
モチリン受容体作動薬	RQ-00201894	胃不全麻痺・機能的胃腸症・術後イレウス	全世界	前臨床終了
グレリン受容体作動薬	RQ-00433412	がんに伴う食欲不振・悪液質症候群・脊髄損傷に伴う便秘	全世界	前臨床実施中
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	疼痛	日本	前臨床検討中

出所：会社資料よりSR社作成（2022年5月末現在）

## カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB（一般名：テゴプラザン）

テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD：逆流性食道炎）を主な適応症とし、既存治療の主流であるプロトンポンプ阻害剤（PPI：Proton Pump Inhibitors）に代わる新薬である。2010年9月にHKイノエン社に導出したテゴプラザンについては、当社が日本における権利を有しており、臨床第1相試験にあたる薬理試験の準備中である。当社は2023年12月に薬理試験を終了し、2024年12月に導出して国内導出のドライバーとする考えで、導出先を模索中である。

### 韓国データを活用して国内承認申請を準備

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

### ベスト・イン・クラスとなる可能性

P-CABのうち、非びらん性胃食道逆流症の適応を持つのは、当社のテゴプラザンのみである。日本、中国、米国では前述の「タケキャブ®」が先行している、非びらん性胃食道逆流症の適応についての承認は未取得である。日本では非びらん性胃食道逆流症がGERDの60%を占めており（出所：大阪市医学会「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。当社によれば、2020年における日本の胃食道逆流症の患者数は17百万人（人口比14%）で、市場規模は250,000百万円であった。

## 5-HT4部分作動薬 (RQ-00000010)

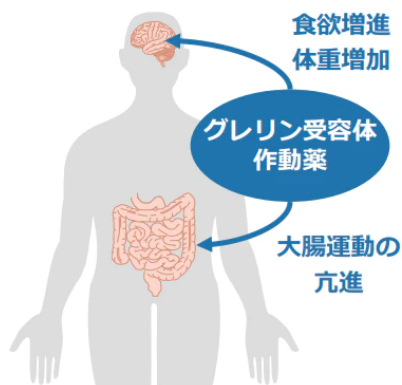
胃不全麻痺、機能的胃腸症、慢性便秘など、消化管運動不全を目的適応症として開発中の化合物。2013年1月にAskAi社と提携を開始し、英国における、健康成人および患者を対象とした臨床第Ⅰ相試験を終了している。導出活動を進めるほか、次の開発段階である臨床第Ⅱ相試験の実施に向けた検討を行っている。

## グレリン受容体作動薬 (RQ-00433412)

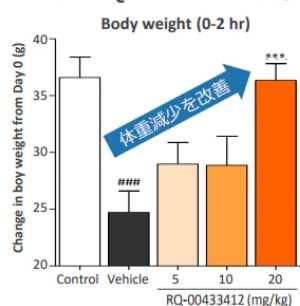
がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発中で、同社が創業後に新たに創製した化合物である。前臨床試験用の原薬製造を完了し、2021年12月期第4四半期（2021年10月～12月）から外部委託による前臨床試験を実施中である。同社は2023年12月期末までに前臨床試験を終了して2024年に全世界の権利を導出する計画で、候補先を模索している。

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

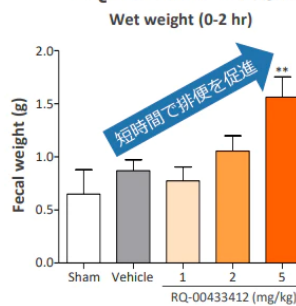
### グレリン受容体作動薬の効果



担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



脊髄損傷ラットにおけるRQ-00433412の効果



出所：会社資料

## TRPM8遮断薬 (RQ-00434739)

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

## モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894)

胃不全麻痺、機能的胃腸症、術後イレウスなどの消化管運動不全を目標適応症とした化合物。臨床第Ⅰ相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臨床第Ⅰ相試験の実施に向けた検討を行っている。

## 探索研究段階のパイプライン

2022年2月時点で、同社が探索研究を行っているプログラムは9本あり、そのうち4本については企業やアカデミアとの共同研究を行っている。

## 特定のタンパク質間相互作用を標的とした共同研究

疼痛を主適応症として、大阪大学発のバイオベンチャー、インタープロテイン株式会社（非上場、旧・インターサイト・ナノサイエンス株式会社）と共同開発を行っている。

## 特定のイオンチャネルを標的とした創薬研究に関する共同研究

主適応症は非開示。あすか製薬社と共同開発を行っている。

## 特発性小児ネフローゼ症候群治療薬の創出に向けた共同研究

特発性小児ネフローゼ症候群を主適応症とした創薬標的分子の探索を、株式会社Epigeneron（非上場）と共同開発を行っている。

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

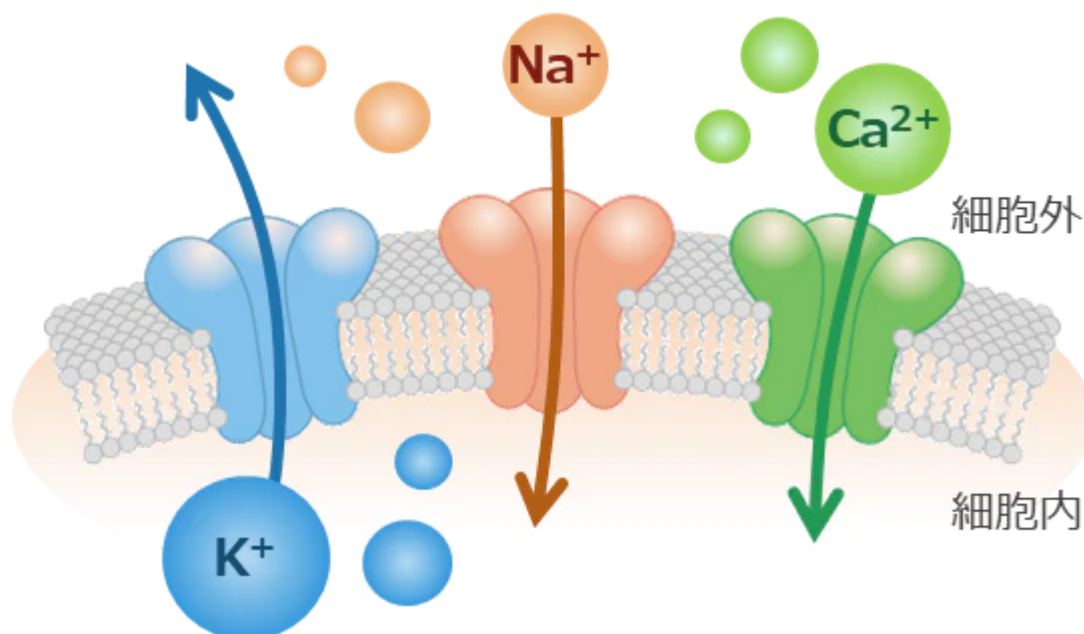
## イオンチャネル創薬

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、1つのイオンチャネルを遮断すると、別の場所のイオンチャネルも同時に遮断されて全身に影響が出るため、選択的な遮断を行わないと副作用が強くなる。心臓や脳など生命活動の根幹を担う臓器に広く発現しているため、心毒性や神経毒性といった致命的な副作用が出やすい傾向がある。化合物のデザインのノウハウと、それを評価するためのハイスループットスクリーニング\*を常に行える体制が必要とされるため、参入する企業が少ないニッチな領域である。そのためイオンチャネルをターゲットとした医薬品は全体の5%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～(継続中)

## 同社が創製した開発候補化合物とライセンス契約先

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

出所：会社資料よりSR社作成

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

## 神経疾患への疾患領域の拡大

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



# 市場とバリューチェーン

## 世界の医薬品市場

米国IQVIA Holdings, Inc. (NYSE: IQV、以下、IQVIA社)によれば、2021年の世界の医療用医薬品の売上高は1,424十億米ドル(170.9兆円、1米ドル120.0円換算)であった。またIQVIA社は、2026年までの5年間の年平均成長率を3~6%、2026年の世界の医薬品市場は1,750~1,780十億米ドル(210.0~213.6兆円、同)になると予測している。

### 世界の医薬品市場規模

(10億ドル)	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	年平均成長率
米国	331	326	343	389	431	455	464	492	519	543	4.8%
日本	112	109	91	85	79	89	86	86	89	89	2.4%
中国	67	85	97	111	121	123	128	137	150	148	4.2%
欧州	263	246	258	266	239	245	260	282	286	303	4.9%
中南米	67	71	73	65	75	87	95	67	67	62	-3.8%
その他	124	128	132	138	161	143	145	154	160	161	0.0%
世界合計	963	964	994	1,056	1,104	1,141	1,178	1,216	1,272	1,305	3.4%

出所：製薬協DATABOOK2022(データ元：IQVIA)よりSR社作成

\*年平均成長率は2020年までの5年間

### 主な標的疾患の潜在市場規模

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

出所：会社資料よりSR社作成

## 消化性潰瘍薬の市場規模

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

## 国内医薬品市場の推移

IQVIA社によると、2021年の国内医療用医薬品の売上高は10.6兆円(前年比2.2%増)となり、7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351,640百万円(同1.3%増)で、武田薬品社の抗潰瘍薬「タケキャブ®」が111,100百万円(同13.5%増)で、製品別売上高第3位となった。

## 国内医療用医薬品市場推移

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

出所：会社データよりSR社作成

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

## 日本における薬価改定の影響

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

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

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

## 薬価改定率と平均乖離率の推移

	1994	1996	1998	2000	2002	2004	2006	2008
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%
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%
平均乖離率	17.8%	13.1%	9.5%	7.1%	6.3%	8.0%	6.9%	8.4%
	2010	2012	2014	2016	2018	2019	2020	2021
改定率（薬剤費ベース）	-5.75%	-6.00%	-5.64%	-5.57%	-7.48%	-4.35%	-4.38%	-6.69%
改定率（医療費ベース）	-1.23%	-1.26%	-1.22%	-1.22%	-1.65%	-0.93%	-0.99%	-1.44%
平均乖離率	8.4%	8.2%	8.8%	9.1%	7.2%	8.0%	8.0%	7.6%

出所：厚生労働省「薬価改定の推移」よりSR社作成

## 世界のペット用医薬品市場規模

Global Market Insights Research Inc.（非上場）によれば、2020年における世界のペット用医薬品市場規模は約11,830百万米ドル（約1.4兆円、1米ドル120.0円換算）で、2027年までの年平均成長率は約6%と予測されている。新興国などの経済成長や中間所得層の拡大により、ペットの頭数は増加しており、ペット用医薬品市場は成長が続いている。

## 創薬モダリティの変遷

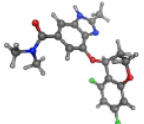
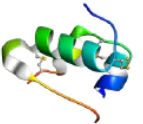


従来、製薬業界では低分子化合物による創薬が大半を占めていたが、1990年代から抗体、酵素、ホルモンなどを応用してバイオテクノロジーによって作られた「バイオ医薬品」が承認されるようになった。現在では中分子医薬、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬、再生医療など、モダリティが多様化している。

## 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）				
分子重量	100~500	500~1万	~1万	約10万~
製法	化学合成	化学合成/培養	化学合成/培養	培養
標的分子	タンパク質	○	○	○
	核酸 (DNA/RNA)	○		○
標的分子の所在	細胞内	○	○	○
	細胞外	○	○	○
投与経路	経口	○		
	その他	○	○	○

出所：会社資料

## 米国FDAの承認件数

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

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

バイオ医薬品は、低分子では難しかった標的へのアプローチが可能になったというメリットはあるものの、経口薬を作れないなどのデメリットもあり、米国FDAの承認件数に占める低分子医薬の割合は、2021年に72.0%と依然として高い水準にある。

## 競合他社動向

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

# バイオベンチャーのビジネスモデル分類

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

出所：経済産業省（2017年「バイオベンチャーのビジネスモデルと資金調達あり方」）、会社資料よりSR社作成  
 \*創薬パイプライン型は、適応疾患や販売地域などの部分的導出やアライアンスによる開発・販売など、多彩な戦略がある。

## 創薬ベンチャー企業各社の直近通期実績

証券コード	企業名	直近通期実績			主な特徴
		売上高 (百万円)	営業利益率 (%)	ROE (%)	
4579	ラクオリア創薬	2,776	25.5%	17.2%	ファイザー社日本法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	12,690	12.8%	11.6%	中国を拠点に新薬探索、臨床開発から製造、販売まで一貫した事業活動を行う。中国の特発性肺線維症薬で高シェア。米中に研究開発拠点を持つ
4565	モーせいグループ	17,712	21.3%	1.9%	膜タンパクGPCR標的創薬を行うベンチャー企業。元ジェネテック社長の田村真一氏が創設。買収した英ヘプタレス社が事業の柱
4571	ナノキャリア	264	-780.6%	-29.1%	がん領域に特化した創薬ベンチャー。超微細な「ミセル化ナノ粒子」で副作用の少ない新薬を目指す
4572	カルナバイオサイエンス	2,018	-26.3%	-10.2%	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	8,257	12.3%	39.6%	癌、血液領域を中心とする希少疾患薬に特化。他社から新薬候補物質を導入して開発、製品化を行う
4587	ペプチドリーム	9,366	47.2%	15.6%	独自の創薬プラットフォームシステムPDPSを活用し、特殊ペプチドによる医薬品候補を大手製薬と創製、技術供与を行う。新型コロナウイルス治療薬も開発中
4597	ソレイジア・ファーマ	559	-432.7%	-79.4%	がん領域が主。候補物質の開発権導入による臨床開発が主体の創薬ベンチャー。ファブレスで海外企業に製造委託
4883	モダリス	1	-112.676.7%	-12.6%	切新しい独自のゲノム編集技術を用いた創薬により、希少疾患に属する遺伝子疾患の治療薬を創製するベンチャー企業。米国に研究拠点を有する

出所：各社資料よりSR社作成

(百万円)	ラクオリア創薬 (4579)			GNIグループ (2160)			モーせいグループ (4565)		
	19年12月期 連結	20年12月期 連結	21年12月期 連結	19年12月期 IFRS連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結	19年12月期 IFRS連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結
売上高	1,703	1,107	2,776	7,446	9,774	12,690	9,726	8,842	17,712
売上総利益	1,440	969	2,456	6,395	8,228	11,090	8,875	8,081	16,779
研究開発費	864	932	1,127	758	1,243	2,016	4,292	3,793	5,931
販管費	592	523	620	4,334	5,181	7,959	3,614	3,435	3,940
営業利益	-16	-486	708	1,302	1,870	1,625	384	928	3,775
経常利益	22	-528	864	1,197	1,806	1,107	534	1,622	433
当期純利益	5	-607	756	182	1,366	55	1,432	1,479	1,017
株主資本利益率	0.1%	-14.1%	17.2%	1.8%	7.1%	11.6%	3.3%	3.0%	1.9%
総資産経常利益率	0.5%	-11.6%	18.2%	6.3%	8.2%	4.1%	0.9%	2.4%	0.5%
営業利益率	-0.9%	-43.9%	25.5%	17.5%	19.1%	12.8%	3.9%	10.5%	21.3%
総資産	4,837	4,251	5,234	20,607	23,219	30,297	56,680	76,465	96,985
純資産	4,621	4,011	4,788	13,096	12,769	19,266	45,078	52,381	57,468
株主資本比率	95.3%	94.1%	91.3%	51.9%	47.4%	62.3%	79.5%	68.5%	59.3%
営業CF	-531	-289	366	789	1,378	552	3,441	4,672	7,095
投資CF	216	225	-279	-153	570	-261	-246	-150	278
財務CF	696	-7	-16	2,218	801	2,853	-6,964	20,278	11,123
現預金	2,174	1,394	2,345	7,674	10,322	14,352	15,375	40,008	60,087
有利子負債	2	46	39	2,038	1,747	1,126	3,368	1,834	1,831
ネットデット	-2,172	-1,349	-2,306	-5,636	-8,575	-13,226	-12,007	-38,174	-58,256
	ナノキャリア (4571)			カルナバイオサイエンス (4572)			シンバイオ (4582)		
	20年3月期 連結	21年3月期 連結	22年3月期 連結	19年12月期 連結	20年12月期 連結	21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
売上高	553	313	264	3,207	1,133	2,018	2,838	2,987	8,257
売上総利益	475	275	223	3,000	941	1,882	865	867	5,800
研究開発費	1,152	1,173	1,530	1,281	1,474	1,841	2,442	2,267	1,736
販管費	506	405	503	2,022	1,998	2,413	5,166	5,373	4,784
営業利益	-1,106	-1,303	-2,061	978	-1,057	-531	-4,302	-4,506	1,016
経常利益	-1,144	-1,279	-1,925	957	-1,077	-523	-4,377	-4,616	1,001
当期純利益	-2,010	-2,836	-1,882	828	-1,111	-534	-4,376	-4,090	2,032
株主資本利益率	-27.8%	-35.2%	-29.1%	26.8%	-21.1%	-10.2%	-107.4%	-104.7%	39.6%
総資産経常利益率	-13.1%	-15.3%	-25.7%	35.1%	-29.0%	-13.2%	-76.0%	-79.9%	13.6%
営業利益率	-200.0%	-415.9%	-780.6%	30.5%	-93.3%	-26.3%	-151.6%	-150.9%	12.3%
総資産	8,945	7,821	7,136	5,377	4,835	5,433	5,274	6,275	8,453
純資産	8,769	7,500	5,567	3,854	3,824	4,316	4,400	4,657	6,746
株主資本比率	97.0%	94.8%	77.6%	71.5%	79.0%	79.3%	83.4%	74.2%	79.8%
営業CF	-1,139	-1,247	-1,753	1,478	-1,261	-1,537	-4,351	-4,122	140
投資CF	-112	-872	-244	-41	-70	-42	-216	-160	-71
財務CF	2,162	-11	1,146	2,122	724	1,065	3,740	4,222	-72
現預金	4,471	3,892	3,545	4,915	4,299	3,818	3,911	3,849	3,860
有利子負債	0	0	1,150	729	430	540	0	0	0
ネットデット	-4,471	-3,892	-2,395	-4,186	-3,869	-3,278	-3,911	-3,849	-3,860
	ペプチドリーム (4587)			ソレイジア・ファーマ (4597)			モダリス (4883)		
	19年12月期 IFRS連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結	19年12月期 IFRS連結	20年12月期 IFRS連結	21年12月期 IFRS連結	19年12月期 連結	20年12月期 連結	21年12月期 連結
売上高	1,037	11,677	9,366	1,310	454	559	645	342	1
売上総利益	366	9,529	7,008	1,244	244	373	-	-	-
研究開発費	893	1,460	1,638	1,138	1,928	845	304	532	1,010
販管費	360	1,078	952	1,868	2,432	1,948	184	208	231
営業利益	-887	6,991	4,418	-1,762	-4,116	-2,419	157	-398	-1,239
経常利益	-707	6,976	4,774	-1,797	-4,159	-2,442	146	-440	-745
当期純利益	-488	4,448	3,606	-1,867	-4,127	-2,478	141	-448	-739
株主資本利益率	-2.9%	23.4%	15.6%	-26.7%	-78.1%	-79.4%	5.6%	-8.9%	-12.6%
総資産経常利益率	-3.7%	31.6%	18.1%	-22.9%	-60.6%	-54.8%	5.7%	-8.6%	-16.6%
営業利益率	-85.5%	59.9%	47.2%	-134.5%	-906.6%	-432.7%	24.4%	-116.5%	-112.676.7%

### ラクオリア創薬 / 4579



総資産	17,817	26,267	26,619	7,946	5,775	3,144	3,938	6,277	6,069
純資産	16,978	21,217	24,999	6,917	3,652	2,587	3,843	6,207	5,549
株主資本比率	94.8%	80.5%	93.8%	87.0%	63.2%	82.3%	97.6%	98.9%	91.4%
営業CF	242	1,733	6,655	-828	-2,789	-2,473	224	-377	-747
投資CF	-138	-1,200	-2,283	-735	-171	-164	-62	-830	172
財務CF	-	-237	66	1,641	1,829	361	2,491	2,778	73
現金	6,987	7,149	11,747	4,116	2,964	714	3,857	5,421	4,936
有利子負債	0	0	0	68	1,039	84	0	0	0
ネットデット	-6,987	-7,149	-11,747	-4,048	-1,925	-630	-3,857	-5,421	-4,936

出所：各社データよりSR社作成

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

# SW (Strengths, Weaknesses) 分析

## 強み (Strengths)

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

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

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

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

### 「特許」を数百件保有すること

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

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

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

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

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

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

## 弱み（Weaknesses）

### 創薬モダリティ（創薬手法）が低分子に偏っていること

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

同社は上市品4品目、イオンチャネルを含む導出済プロジェクト10本、導出準備パイプライン6本の豊富な開発パイプラインを有しているが、そのすべてが低分子医薬である。新規医薬品は3万分の1の確率でしか上市できないと言われるが、低分子医薬は1つの開発候補化合物を創るのに72カ月程度かかるため、時間とコストがかかる割には市場規模はバイオ医薬品に比べて小さい。バイオ医薬品は、低分子では難しかった標的へのアプローチが可能になったというメリットはあるものの、経口薬を作れないなどのデメリットもあり、米国FDAの承認件数に占める低分子医薬の割合は、2021年に72.0%と依然として高い水準にある。

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

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

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

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

### 研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

同社は製薬会社で研究開発の経験を積んだ研究者を中心に採用を進めており、2022年12月期以降は博士人材の採用を進めて世界のトップ企業と肩を並べられるような体制を作る方針である。しかし、生物薬理研究者は専門性が高く、疾患領域が分かれているため、従来の疼痛・消化器から神経疾患に領域を広げることで、専門的に神経疾患の研究を行ってきた人材の確保が必要となる。大学院博士課程の入学者数は、2003年をピークに減少が続いており、2010年は前年比3.6%増加したものの、その後再び減少傾向にあった。また、バイオ創薬は海外が主流であり、国内の研究者は数少ない。同社のニーズにマッチした人材の確保ができるかどうか、同社の将来の成長を左右する、とSR社では考える。

# 過去の業績と財務諸表

## 損益計算書

損益計算書 (百万円)	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期
	非連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
事業収益	29	228	154	146	705	1,419	745	1,703	1,107	2,776
前年比	-95.8%	687.0%	-32.5%	-5.5%	384.7%	101.2%	-47.5%	128.7%	-35.0%	150.7%
事業費用	2,666	2,366	2,276	2,010	1,465	1,570	1,820	1,719	1,593	2,068
前年比	2.5%	-11.2%	-3.8%	-11.7%	-27.1%	7.1%	15.9%	-5.5%	-7.3%	29.8%
売上原価	-	0	3	-	118	150	89	263	138	321
前年比	-	-	731.3%	-	-	27.1%	-40.2%	193.9%	-47.5%	132.4%
研究開発費	1,804	1,518	1,480	1,302	796	849	1,075	864	932	1,127
前年比	8.6%	-15.9%	-2.5%	-12.0%	-38.9%	6.6%	26.6%	-19.6%	7.9%	20.9%
研究開発費比率	6,225.5%	665.7%	961.7%	895.2%	112.9%	59.8%	144.3%	50.7%	84.2%	40.6%
販売費及び一般管理費	862	848	794	708	551	572	656	592	523	620
前年比	-7.2%	-1.6%	-6.3%	-10.9%	-22.1%	3.7%	14.7%	-9.7%	-11.6%	18.6%
販管費比率	2,974.2%	371.7%	515.9%	486.4%	78.2%	40.3%	88.1%	34.8%	47.2%	22.3%
営業利益	-2,637	-2,138	-2,123	-1,865	-760	-150	-1,075	-16	-486	708
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	25.5%
営業外収益	28	327	187	99	94	85	45	49	35	177
受取利息	4	1	3	4	13	4	9	9	4	2
有価証券利息	2	-	31	78	52	35	32	35	28	21
為替差益	-	55	27	14	-	1	-	-	-	146
複合金融商品評価益	-	-	20	-	8	-	-	4	1	0
有価証券売却益	-	-	-	1	-	-	-	-	-	-
補助金収入	11	-	-	-	20	44	1	0	2	6
受取配当金	-	-	-	0	-	-	-	-	-	-
投資損失引当金戻入額	-	261	-	-	-	-	-	-	-	-
受取家賃	5	-	-	-	-	-	-	-	-	-
中間体等売却収入	3	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	3	10	6	1	2	1	3	1	1	3
営業外費用	282	9	7	29	55	85	35	12	76	21
支払利息	-	-	-	-	-	-	-	-	0	1
社債利息	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
為替差損	5	-	-	-	55	-	33	0	76	-
株式交付費	-	8	7	6	-	13	1	12	0	0
デリバティブ評価損	-	-	-	-	-	-	-	-	-	10
和解金	-	-	-	-	-	-	-	-	-	10
複合金融商品評価損	-	-	-	21	-	2	1	-	-	-
有価証券償還損	-	-	-	2	-	-	-	-	-	-
投資損失引当金繰入額	261	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	17	1	-	-	-	0	-	-	-	-
経常利益	-2,891	-1,820	-1,942	-1,795	-721	-81	-1,065	22	-528	864
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	1.3%	-	31.1%
特別利益	-	801	1,549	66	21	5	6	9	9	17
固定資産売却益	-	-	6	-	-	-	-	1	-	-
投資有価証券売却益	-	801	1,544	66	-	18	5	6	8	14
投資有価証券償還益	-	-	-	-	-	-	-	-	-	2
特別損失	10	83	65	119	2	0	18	9	9	-
減損損失	-	58	-	-	-	-	-	3	3	-
投資有価証券売却損	-	-	-	-	-	0	-	0	0	-
投資有価証券償還損	-	-	-	6	2	-	-	7	-	-
特別退職金	10	-	10	69	-	-	-	-	-	-
事務所移転費用	-	-	54	43	-	-	-	-	-	-
貸借契約解約損	-	24	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	-	1	-	-	-	-	-	-	-	-
法人税等	4	6	7	6	5	-2	26	22	79	125
税率	-0.1%	-0.6%	-1.5%	-0.3%	-0.7%	2.9%	-2.4%	80.4%	-15.0%	14.2%
親会社株主に帰属する当期純利益	-2,905	-1,108	-465	-1,854	-728	-58	-1,105	5	-607	756
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
純利益率	-	-	-	-	-	-	-	0.3%	-	27.2%

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ルティ収入等）に一定の料率を乗じた金額をロイヤルティとして支払い、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ルティは、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)	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期
	非連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結	連結
資産										
現金及び預金	4,890	4,035	1,891	1,840	1,428	2,268	1,671	2,174	1,394	2,345

受取手形及び売掛金	10	60	20	73	58	449	1	747	531	1,205
有価証券			1,184	503	9	329	168	26	719	314
たな卸資産	48	47	9	7	7	5	6	6	7	11
前渡金	101		58	179	205	190	9	6	36	16
前払費用	21		55	65	56	62	72	69	50	90
その他	21		43	40	43	20	35	39	97	22
<b>流動資産合計</b>	<b>5,090</b>	<b>4,364</b>	<b>3,261</b>	<b>2,708</b>	<b>1,806</b>	<b>3,322</b>	<b>1,962</b>	<b>3,067</b>	<b>2,834</b>	<b>4,004</b>
建物及び構築物	54	83	80	140	141	142	143	143	153	154
工具、器具及び備品	47	370	349	394	452	488	677	742	872	944
リース資産							3	3	49	60
減価償却累計額		-464	-363	-273	-344	-415	-505	-639	-741	-859
機械装置及び運搬具	0	17	2							
<b>有形固定資産合計</b>	<b>101</b>	<b>7</b>	<b>85</b>	<b>261</b>	<b>249</b>	<b>216</b>	<b>318</b>	<b>249</b>	<b>333</b>	<b>299</b>
商標権	2	4	3	2	6	5	5	5	4	4
ソフトウェア	18		6	8	7	4	28	27	28	29
その他	1	8	3	4	0	-	1	1	1	1
<b>無形固定資産合計</b>	<b>21</b>	<b>12</b>	<b>12</b>	<b>14</b>	<b>13</b>	<b>10</b>	<b>34</b>	<b>32</b>	<b>33</b>	<b>34</b>
投資有価証券	476	2,221	1,800	1,752	1,937	1,503	1,717	1,474	1,038	888
長期前払費用	4		4	5	3	2	10	2	0	0
繰延税金資産									3	-
差入保証金	70									
投資損失引当金	-261									
その他	-	45	39	12	11	11	12	12	10	9
<b>投資その他の資産合計</b>	<b>289</b>	<b>2,266</b>	<b>1,844</b>	<b>1,769</b>	<b>1,951</b>	<b>1,516</b>	<b>1,738</b>	<b>1,488</b>	<b>1,051</b>	<b>897</b>
<b>固定資産合計</b>	<b>411</b>	<b>2,284</b>	<b>1,941</b>	<b>2,044</b>	<b>2,213</b>	<b>1,742</b>	<b>2,090</b>	<b>1,769</b>	<b>1,417</b>	<b>1,230</b>
<b>資産合計</b>	<b>5,501</b>	<b>6,648</b>	<b>5,202</b>	<b>4,752</b>	<b>4,019</b>	<b>5,064</b>	<b>4,052</b>	<b>4,837</b>	<b>4,251</b>	<b>5,234</b>
<b>負債</b>										
支払手形及び買掛金						2		34	42	46
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	1	1	18	22
未払金	91	142	119	123	126	63	99	67	53	113
未払費用	72		63	57	40	44	48	50	50	63
未払法人税等	16	17	16	15	1	21	14	20	21	80
未払消費税等						14				37
繰延税金負債					1					
前受金			14		14	1		7		
預り金	4		5	5	3	4	3	3	3	29
その他	-	74	46	-	5	-	-	-	-	10
<b>流動負債合計</b>	<b>183</b>	<b>233</b>	<b>262</b>	<b>200</b>	<b>190</b>	<b>149</b>	<b>164</b>	<b>183</b>	<b>187</b>	<b>401</b>
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	2	2	27	18
資産除去債務				12	12	12	12	12	12	12
繰延税金負債	7	669	109	26	29	16	16	19	14	16
その他	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
<b>固定負債合計</b>	<b>7</b>	<b>669</b>	<b>109</b>	<b>38</b>	<b>41</b>	<b>27</b>	<b>31</b>	<b>33</b>	<b>53</b>	<b>46</b>
<b>負債合計</b>	<b>191</b>	<b>902</b>	<b>371</b>	<b>238</b>	<b>231</b>	<b>176</b>	<b>195</b>	<b>216</b>	<b>240</b>	<b>446</b>
<b>純資産</b>										
資本金	8,490	8,628	8,952	9,806	2,238	2,741	2,793	2,255	2,255	2,257
資本剰余金	3,774	3,912	4,236	5,090	2,238	2,931	2,983	2,445	2,445	2,447
利益剰余金	-6,965	-8,074	-8,567	-10,421	-728	-786	-1,890	-99	-706	50
新株予約権		33	11	11	15	17	13	12	12	11
<b>純資産合計</b>	<b>5,310</b>	<b>5,746</b>	<b>4,831</b>	<b>4,514</b>	<b>3,788</b>	<b>4,888</b>	<b>3,857</b>	<b>4,621</b>	<b>4,011</b>	<b>4,788</b>
<b>負債純資産合計</b>	<b>5,501</b>	<b>6,648</b>	<b>5,202</b>	<b>4,752</b>	<b>4,019</b>	<b>5,064</b>	<b>4,052</b>	<b>4,837</b>	<b>4,251</b>	<b>5,234</b>
運転資金	57	107	29	80	65	452	7	718	496	1,170
有利子負債合計	-	-	-	-	-	-	3	2	46	39
ネット・デット	-4,890	-4,035	-1,891	-1,840	-1,428	-2,268	-1,668	-2,172	-1,349	-2,306

出所：会社データよりSR社作成

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

## キャッシュフロー計算書

キャッシュフロー計算書	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期
(百万円)	非連結	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)	-2,729	-2,179	-2,081	-2,117	-681	-307	-404	-531	-289	366
税金等調整前当期純利益	-2,902	-1,102	-632	-1,848	-723	-60	-1,078	27	-628	881
減価償却費	28	68	21	53	80	86	126	140	124	142
減損損失									3	-
固定資産売却損益・処分損									-1	-
運転資本の増減	-112	-50	78	-51	15	-377	445	-711	223	-674
投資活動によるキャッシュフロー(2)	3,741	952	-796	666	-441	534	-368	216	225	-279
有形及び無形固定資産の取得による支出	-54	-26	-101	-200	-37	-88	-221	-94	-156	-105
有形及び無形固定資産の売却による収入		4	2						1	-
FCF (1+2)	1,013	-1,227	-2,877	-1,451	-1,122	226	-772	-315	-64	87
財務活動によるキャッシュフロー	-	309	762	1,702	-	1,007	99	696	-7	-16
短期借入金の純増減額										
長期借入金の純増減額	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
社債の発行と償還の合計	-	-	140	-	-	-	-	-	-	-
新株予約権の行使による株式の発行による収入		272	640	1,686		996	100	692	0	2
新株予約権の発行による収入		38	15	15		11		4		
株式の発行による収入										
リース債務の返済による支出							-1	-1	-7	-18
現金及び現金同等物の増減 (-は減少)	1,013	-855	-2,031	252	-999	1,229	-644	371	-139	179
現金及び現金同等物の期末残高	4,890	4,035	2,004	2,243	1,244	2,474	1,830	2,200	2,061	2,241

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

営業活動により獲得した資金は、2020年12月期（289百万円のマイナス）に比べて655百万円増加し、366百万円となった。これは主に、税金等調整前当期純利益880百万円および減価償却費141百万円を計上したほか、売上債権の増加



674百万円による。

## 投資活動によるキャッシュフロー

投資活動により使用した資金は、2020年12月期（225百万円のプラス）に比べて504百万円増加し、279百万円となった。これは主に、有価証券取得による支出200百万円、投資有価証券取得による支出200百万円、投資有価証券の売却による収入221百万円による。

## 財務活動によるキャッシュフロー

財務活動により使用した資金は、2020年12月期（7百万円のマイナス）に比べて9百万円増加し、16百万円となった。これは主に、リース債務の返済による支出18百万円による。

# 過去の業績

## 2022年12月期第2四半期累計実績（2022年8月15日発表）

### 業績概要

#### 2022年12月期第2四半期（2022年1月～6月）累計実績

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

### 増収増益の要因

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

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

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

## パイプラインの状況

### 上市品の状況

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

## テゴブラザンの世界各国における展開

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

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

## 導出済パイプラインの状況

導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

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

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

## 導出準備パイプライン

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

# 2022年12月期第1四半期実績

## 業績概要

### 2022年12月期第1四半期（2022年1月～3月）実績

- 売上高：339百万円（前年同期比48.3%減）
- 営業損失：120百万円（前年同期は149百万円の利益）
- 経常損失：70百万円（同268百万円の利益）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：121百万円（同189百万円の利益）
- 研究開発費：264百万円（同3.0%増）
- 進捗率：売上高13.0%、研究開発費17.9%

当第1四半期には、ロイヤルティ収入184百万円（前年同期比36%増）とELURA®の欧州における承認申請に伴うマイルストーン収入115百万円を受領し、その他の収益40百万円を加えた売上高は339百万円となった。旭化成ファーマ社とマルホ社から総額516百万円のマイルストーン収入を受領した前年同期と比べ、減収であった。

研究開発費は、探索研究を軸に264百万円を計上した。グレリン受容体作動薬の前臨床試験を実施し、テゴプラザンの臨床薬理試験準備に着手した。

売上高進捗率が13.0%となっているのは、テゴプラザンのロイヤルティ収入のタイミングが半年に1回になっており、第2四半期と第4四半期に計上されるため、ほぼ会社計画通りに進捗している。第1四半期決算発表時点で、2022年12月期の業績予想に変更はない。

## パイプラインの状況

### 上市品の状況

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<sup>®</sup>」の売上が引き続き好調に推移し、院外処方データでは前年同期比23.5%増となった。さらに、HKイノエン社はテゴプラザンの新たな剤形である口腔内崩壊錠の製造販売承認を取得した。また、中国においてHKイノエン社のライセンス先であるLuoxin社が、2022年4月に中国当局から製造販売承認を取得した。マレーシアではHKイノエン社とPharmaniaga社との間で、製剤供給契約が締結された。

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

### 導出済パイプライン

導出先企業において、前臨床開発段階以降の取り組みが進められている。

### 導出準備パイプライン

日本におけるテゴプラザンの開発については、韓国のデータを活用して効率的な開発と承認取得のため、日本人と韓国人の民族差を評価することを目的として、臨床薬理試験の実施を決定した。総合失調症治療薬ジブラシドンについては、2011年3月にMeiji Seikaファルマ株式会社と締結した、日本における開発・販売に関する独占実施権を許諾するライセンス契約を、2022年2月に双方同意のうえ終了した。同社は国内における開発・販売権利を、ライセンス導入元である米国Viatris Inc. (VTRS、NASDAQ) に返還することを決定した。

## 2021年12月期通期実績

### 業績概要

#### 2021年12月期通期（2021年1月～12月）実績

- 売上高：2,776百万円（前年比150.7%増）
- 営業利益：708百万円（前期は486百万円の損失）
- 経常利益：864百万円（同528百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純利益：756百万円（同607百万円の損失）
- 研究開発費：1,127百万円（同20.9%増）
- 修正後予想に対する達成率：売上高99.2%、営業利益100.1%、経常利益101.9%、当期純利益100.8%

HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（テゴプラザン、K-CAB<sup>®</sup>）の販売拡大が進み、Elanco Animal Health社のペット用医薬品、GALLIPRANT<sup>®</sup>、ENTYCE<sup>®</sup>、ELURA<sup>®</sup>の販売が堅調に推移した。これら上市品4品目からのロイヤルティ収入の好調に加え、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、2008年の創業以来初の営業黒字を達成した。

2021年3月25日開催の定時株主総会において、株主提案議案が承認可決されたことにより、代表取締役の異動を含む新経営体制となった。

#### 2021年12月期に受領したマイルストーン収入と契約一時金

- 旭化成ファーマ社からP2X7受容体拮抗薬のライセンス契約締結に伴う契約一時金
- マルホ社からマイルストーン達成に伴う一時金
- シロス社からマイルストーン達成に伴う一時金

- Xgene社からTRPM遮断薬およびナトリウムチャンネル遮断薬のライセンス契約に伴う契約一時金

## パイプラインの状況

### 上市品の状況

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「KCAB®」の売上が、前年に引き続き好調に推移した。第1四半期においては在庫調整などの影響はあったものの、第2四半期以降は伸長し、販売ロイヤリティ収入は大幅に増加した。テゴブラザンは、2021年11月に韓国において胃潰瘍治療に対する健康保険給付の対象となった。これはびらん性胃食道逆流症および非びらん性胃食道逆流症に続く、3番目の適用となる。またHKイノエン社は、びらん性胃食道逆流症が治癒した患者に対する維持療法の追加適応について、韓国食品医薬品安全処（MFDS）に申請を計画している。

グローバル開発については、中国におけるHKイノエン社のライセンス先であるLuoxin社が2020年に行ったNDA申請（新薬承認申請）に基づき、中国当局による承認審査が進行中である。HKイノエン社は、中国における承認取得時期の目標を2022年上半年期と見込んでいる。米国・カナダにおいては、HKイノエン社が米国で臨床第Ⅰ相試験を開始したほか、2021年12月に米国Braintree社との間でサブライセンス契約を締結した。

アジアではモンゴルで承認を取得したほか、フィリピン、タイ、ベトナム、シンガポール、インドネシアで新薬承認申請に向けた準備がサブライセンス先によって進められている。中南米諸国ではメキシコで医薬品承認審査に携わる期間のひとつ「新分子委員会」の審査を通過し、2023年度の承認取得を目指した準備がサブライセンス企業により進められている。HKイノエン社は2028年に100カ国に進出するという目標を掲げ、その他の地域におけるサブライセンス先を探索している。

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT®および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE®の売上高は、総じて堅調であった。カプロモレリンについては、エランコ社が販売名ELURA®として、慢性腎疾患（CKD）のネコの体重減少を管理する薬として、米国での販売を開始した。

### 導出済パイプライン

同社が強みとする「イオンチャンネル創薬」については、同社と旭化成ファーマ社との共同研究から創出されたP2X7受容体拮抗薬、EAファーマ社との共同研究により創製された化合物、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、あすか製薬社との共同研究案件、Xgene社に導出したTRPM8遮断薬、5つのプログラムが着実に進展している。

P2X7受容体拮抗薬については旭化成ファーマ社とリリー社との間でライセンス契約が締結されたことで、リリー社が今後のグローバル開発実施に向けて、臨床第Ⅱ相試験の準備を進めている。

あすか製薬社との共同研究は順調に進展し、2021年7月にはマイルストーン達成に伴う一時金を受領したほか、同年11月に新たな共同研究契約を締結した。

第3四半期においては、慢性疼痛治療薬の開発を目的として、香港のXgene社に対し、日本を除く全世界を対象とした独占的な開発・製造・販売権を供与した。今後はXgene社が、前臨床段階以降の開発を進めることとなった。

2021年12月には久光製薬社との間で、慢性疼痛治療薬の開発を目的とした、ナトリウムチャンネル遮断薬に関するライセンス契約を締結した。同社は久光製薬社に対して全世界を対象とした独占的な開発・製造・販売権を供与し、今後は久光製薬社が強みを有する経皮吸収型薬剤の開発を目的として前臨床段階以降の試験を進める。

連結子会社テムリック社が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、第1四半期（2021年1月～3月）において、RARA陽性未治療高リスクMDS（骨髄異形成症候群）患者を対象とした臨床第Ⅲ相試験が米国で開始された。また、第3四半期（2021年7月～9月）には、ベネトクラクスとアザシチジンとの3剤併用療法の、RARA陽性未治療Unfit\* AML（急性骨髄性白血病）を対象とした臨床第Ⅱ相試験が、米国で開始された。これらのマイルストーン達成により、マイルストーン収入を受領した。

\*Unfitとは、高齢者などで標準的な化学療法に不適とされる患者を指す。

### 導出準備パイプライン

日本におけるテゴブラザンの開発については、HKイノエン社との協力関係の築き方などを含め、早期の上市を目指した臨床試験の実施に向けて検討を行っている。

連結子会社のラクオリア イノベーションズ株式会社については、事業の継続が困難と判断し、2021年1月22日付で解散、4月1日で精算完了した。

## 2021年12月期第3四半期累計実績

### 業績概要

#### 2021年12月期第3四半期（2021年1月～9月）累計実績

- 売上高：1,623百万円（前年同期比183.0%増）
- 営業利益：107百万円（前年同期は601百万円の損失）
- 経常利益：238百万円（同615百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純利益：169百万円（同699百万円の損失）
- 研究開発費：781百万円（同15.6%増）：今年度予算に対する進捗率は薬63%
- 進捗率：売上高72.3%、営業利益175.4%、経常利益129.3%、四半期純利益143.2%

事業費用の総額は、1,515百万円（前年同期比29.1%増）となった。内訳は、事業原価268百万円（同176.4%増）、研究開発費781百万円（同15.6%増）、その他販管費466百万円（同16.0%増）。その他販管費の増加要因は、株主提案に伴う株主総会関連費用が60百万円と、例年の2倍以上となったため。

### パイプラインの状況

#### 上市品の状況

ペット用医薬品は、前年同期比11.1%増収となり、販売ロイヤルティ収入152百万円を計上した。韓国におけるテゴプラザン（KCAB<sup>®</sup>）の販売も好調で、院外処方の実績は78,100百万ウォンとなった。

#### 導出済パイプライン

2021年9月に香港のXgene社と、新規TRPM8遮断薬に関するライセンス契約を締結し、契約一時金を計上した。また、子会社テムリック社のライセンス先であるシロス社が、未治療Unfit AMLを適応としたタミバロテン/ベネトクラクス/アザシチジン3剤併用療法の臨床第II相試験において、最初の被験者への投与を行った。これにより同社は、マイルストーン達成に伴う一時金100万米ドルを受領した。

#### 導出準備パイプライン

グレリン受容体作動薬の前臨床試験用に準備していた原薬の製造を終了し、第4四半期から前臨床試験を開始する予定である。

このほか、2021年11月にはあすか製薬と新たな共同研究計画を締結した。これまでの共同研究で得られた成果に基づき、発展的な共同研究を実施する。

# 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、愛知県知多郡に本社設立
2008年7月	ファイザー株式会社中央研究所の閉鎖に伴い、従業員の一部が移籍するとともに、研究機器などの設備を有償で譲り受け、事業を開始
2010年9月	CJ Cheil Jedang Corporation（韓国、現・HK inno.N Corporation）とカリウムイオン競合型アシッドブロッカーの韓国、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	創業研究部門生物研究部を名古屋大学内に移転
2014年11月	CJ HealthCare Corporation（現・HKイノエン社）とカリウムイオン競合型アシッド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	創業研究部門科学研究部を名古屋大学内に移転
2017年1月	Aratana Therapeutics, Inc.（現・エランコ社）がEP4拮抗薬（GALLIPLANT <sup>®</sup> 、動物薬）を米国にて販売開始
2017年12月	マルホ株式会社と選択的ナトリウムチャネル遮断薬に関する導出契約を締結
2018年3月	旭化成ファーマ株式会社と神経障害性疼痛治療薬P2X7受容体拮抗薬に関する導出契約を締結
2019年3月	CJ Cheil Jedang Corporation（現・HKイノエン社）がカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（テゴプラザン、K-CAB <sup>®</sup> ）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 <sup>®</sup> 、動物薬）を米国にて販売開始
2019年11月	CJ Cheil Jedang Corporation（現・HKイノエン社）とグローバルパートナーシップ拡大に関する契約を締結
2021年9月	Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（香港）とTRPM8遮断薬に関する導出契約を締結
2021年12月	久光製薬株式会社とナトリウムチャネル遮断薬に関する導出契約を締結
2022年4月	東京証券取引所の新市場区分「グロース市場」に上場

出所：会社資料よりSR社作成

## コーポレートガバナンスおよびトップマネジメント

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

出所：会社資料よりSR社作成

## トップマネジメント

代表取締役 武内博文（1971年12月21日生まれ）

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

ラクオリア創薬/ 4579

# 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。

## 配当方針

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

## 大株主

大株主の状況	所有株式数 (千株)	所有株式数の 割合
柿沼 佑一	2,385	11.38%
株式会社SBI証券	951	4.54%
MSIP CLIENT SECURITIES (常任代理人モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社)	806	3.85%
ファイザー株式会社	743	3.55%
セントラル短資株式会社	580	2.77%
auカブコム証券株式会社	182	0.87%
松井証券株式会社	169	0.81%
田名後 貴裕	167	0.79%
植村 幸雄	146	0.70%
株式会社エス・ビー・シー	122	0.58%
計	6,250	29.83%

出所：会社資料よりSR社作成（2021年12月31日現在）

## 従業員数

	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期
連結従業員（人）		74	72			60	63	68	70	67
単体従業員（人）	81	70	70	64	50	55	58	62	64	62
平均年齢（歳）	42.8	43	43.6	44.1	44.8	45.5	45.5	46.3	47.3	46.5
平均勤続年数（年）	3.8	4.7	5.5	5.9	6.6	7.0	6.9	7.4	8.1	8.7
平均年間給与（千円）	8,497	8,024	7,971	8,124	7,242	7,391	7,408	7,237	7,510	7,369

出所：会社資料よりSR社作成

2021年12月期における同社単体の従業員62名のうち、約50名が研究開発に携わっており、10数名がライセンスの導出などの事業開発と管理業務を行っている。

# 企業概要

企業正式名称

**ラクオリア創薬株式会社**

代表電話番号

**052-446-6100**

設立年月日

**2008年2月19日**

HP

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

IRコンタクト

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

IR Phone

-

本社所在地

**名古屋市中村区名駅南1-21-19 名駅サウスサイドスクエア**

上場市場

**東証グロース市場**

上場年月日

**2011年7月20日**

決算月

**12月**

IRページ

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

IR Email

-



# 株式会社シェアードリサーチについて

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

## 連絡先

企業正式名称

株式会社シェアードリサーチ / Shared Research Inc.

TEL

+81 (0)3 5834-8787

住所

東京都文京区千駄木3-31-12

Email

info@sharedresearch.jp

HP

<https://sharedresearch.jp>

## ディスクレーム

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

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