Coverage initiated on: 2022-09-09
最終更新日: 2024年10月4日

# 4579

# ラクオリア創薬

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

# 目次

**要約** ..... **3**
**主要経営指標の推移** ..... **6**
**直近更新内容** ..... **7**
**業績動向** ..... **11**
四半期実績推移 ..... 11
**事業内容** ..... **21**
ビジネスモデルの概要 ..... 21
パイプラインの概要 ..... 26
**市場とバリューチェーン** ..... **41**
競合他社動向 ..... 44
SW（Strengths, Weaknesses）分析 ..... 45
**過去の業績と財務諸表** ..... **48**
損益計算書 ..... 48
貸借対照表 ..... 48
キャッシュフロー計算書 ..... 49
過去の業績 ..... 50
**ニュース&トピックス** ..... **59**
**その他の情報** ..... **69**
企業概要 ..... 71

# 要約

## 事業概要

ラクオリア創薬株式会社（以下、同社）は、主に低分子化合物の探索研究により新規化合物（シーズ）を創製し、製薬会社などに開発権や販売権を導出する研究開発特化型企業である。探索研究から初期臨床開発段階（第Ⅱ相臨床試験）までを同社が行う創薬ステージと捉え、疼痛、消化器疾患、がん・免疫領域などの幅広い領域をターゲットとした新薬開発を行っている。同社の事業収益（売上高）は、導出先企業からの契約一時金、マイルストン収入、導出先が上市した後の売上に対応したロイヤルティ収入、共同研究に伴う協力金などで構成される。既に4製品が導出先から上市されており、長期的かつ安定的なロイヤルティ収入が主要な財源である。2023年12月期の事業収益は1,901百万円（前期比34.8%減）で、うち約70%をロイヤルティ収入、約30%を契約一時金やマイルストン収入が占める。

2023年の医薬品売上高世界3位の米国の製薬会社のPfizer Inc.（NYSE、PFE、以下、ファイザー社）は、2007年に行った全世界の研究再編の一環として、日本法人中央研究所の閉鎖を決定した。これを受けて中央研究所はEBOによりファイザー社から独立し、2008年7月に創業した。同社は創業前の2008年6月にファイザー社から、探索段階および開発段階にあった複数のプロジェクトに関する知的財産権を譲受した。ファイザー社から譲受した一部の化合物については、同社が他社に権利を導出する場合、同社はファイザー社に対してロイヤルティを支払い、事業原価に計上する。

同社は、導出先企業が上市済みの4品目（tegoprazan（K-CAB®、以下、テゴプラザン）、GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®）に加え、導出済のプログラム13化合物、導出準備プログラム7化合物を有する。テゴプラザンは、胃食道逆流症（GERD）*を主な適応症としたカリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB*2）である。2010年9月に韓国のCJ Healthcare Corporation（現・HK inno.N Corporation（195940、KOSDAQ）、以下、HKイノエン社）に韓国、香港を含む中国、台湾地域における商用化の導出契約を締結した。2019年以降徐々に地域を拡大して、日本を除いた全世界における権利をHKイノエン社に供与している。

HKイノエン社は韓国でK-CAB®を上市し、2028年までに世界100カ国への進出を目指しており、HKイノエン社とそのライセンス先である企業が、韓国を除く45カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。2024年5月時点で、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルーの8カ国においてテゴプラザンが販売されている。また、チリ、ドミニカ共和国、ニカラグア、ホンジュラスにおいて、新たに承認を取得した。アルゼンチンなど24カ国において、臨床開発の実施、現地の規制当局による承認審査、発売準備の段階にある。

*胃食道逆流症（GERD：Gastroesophageal Reflux Disease）は胃の内容物、特に胃酸が食道内に逆流することによって、胸やけなどの特徴的な症状をもたらす疾患。胃酸や胃の内容物が逆流することによる胸やけや呑酸などの症状があるにもかかわらず、内視鏡で食道粘膜に障害を認めない病態を「非びらん性胃食道逆流症（NERD：Non-erosive Reflux Disease）」という。
*2 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）は、既存治療で使用されるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なる作用を持つ薬剤である。既存のPPIが、体内で酸により活性体になってから胃酸の分泌抑制作用を現すのに対し、P-CABは酸による活性化を必要とせず、胃酸を分泌するために必要なカリウムイオンの結合を阻害することで、速やかで有用な胃酸分泌作用を現す。

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

猫の体重減少管理の適応を持つELURA®は2023年に欧州で承認を取得し、2024年8月にフランスでEluracat®として発売された。同年2月には日本でも承認を取得し、2024年中に発売予定である。英国およびその他の欧州諸国、ブラジル、カナダでも承認されており、ELURA®の販売国が今後さらに拡大すると同社は期待する。ペット用医薬品の市場規模はヒト向けの医薬品より小さいものの、国内外において「薬価」が存在しないため価格の維持あるいは値上げが可能で、ロイヤルティ収入が減少しづらいため、安定した収益が確保できるとSR社は考える。

同社は新薬上市の成功確率向上とバリューアップのため、テゴプラザンとグレリン受容体作動薬の2つのプログラムについては自社開発を進める方針であった。テゴプラザンについては、2021年12月期までにHKイノエン社に日本以外の市場における権利を導出したが、日本における権利は同社が有する。当初は第Ⅰ相臨床試験にあたる臨床薬理試験を2023年12月期に終了し、2024年12月期以降に導出を計画していた。2023年12月期には最速の上市を目指して、臨床薬理試験を行わずに2023年12月期中に導出する計画に変更したが、候補先との交渉が長引いたことから、契約締結は

2024年12月期上半期を見込んでいる。がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発を進めているグレリン受容体作動薬は、2025年に同社による臨床試験を開始する予定である。

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

*アンメットメディカルニーズとは、まだ有効な治療法がない疾患に対する医療ニーズのこと。具体的には、がんや認知症、多発性硬化症など重篤な疾患のほか、不眠症や片頭痛など、生命には支障はなくてもQOL改善のため、革新的な新薬が期待されている。
*2 POCとは、研究開発中の新薬候補物質の有用性・有効性が疾患の治療薬になりうるという仮説（臨床コンセプト）が、ヒトに投与されて実証され、認められること。創薬においては、3段階の臨床試験のうち第Ⅱ相試験で、候補物質が少数の患者に対して実際の治療効果を示すか否かを、適切な指標を用いて実証する。

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

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

# 業績動向

2023年12月期実績は、事業収益1,901百万円（前期比34.8%減）、営業損失337百万円（前期は866百万円の利益）、経常損失293百万円（同904百万円の利益）、親会社株主に帰属する当期純損失324百万円（同723百万円の利益）となった。 期中の契約締結を目指して交渉中であったテゴプラザンの日本国内を対象とした権利導出と、ELURA®の欧州における承認・発売のマイルストン達成が2024年12月期に期ずれしたため下方修正した予想に対し、売上高は若干下回ったものの、損失幅は縮小した。HKイノエン社に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazan （テゴプラザン、K-CAB®）のグローバルな業績拡大が業績をけん引し、Elanco社のペット用医薬品、GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®の販売が順調に推移した。

2024年12月期会社予想は、事業収益4,535百万円（前期比138.5%増）、営業利益313百万円（前期は337百万円の損失）、経常利益290百万円（同293百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純利益236百万円（同324百万円の損失）。テゴプラザン、 GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®の安定したロイヤルティ収入に加え、新たなライセンス契約の締結による契約一時金、および開発の進捗に伴うマイルストン収入を見込んでいる。また、連結子会社化により第2四半期からファイメクス社の業績が反映される。想定為替レートは、1米ドル135.0円（前期は138.0円）。なお、第2四半期決算発表時点で、業績予想に変更はない。

同社は2023年12月期の決算発表と同時に、2024年12月期から2026年12月期までの3年間の中期経営計画を発表した。期ずれによる修正とファイメクス社の子会社化に伴い、2024年12月期の事業収益目標が1,569百万円上方修正された。また、2025年12月期の事業収益目標もファイメクス社の寄与と、グレリン受容体作動薬の導出時期変更により201百万円上方修正された。ビジネスモデルや競争力の源泉、投資戦略など事業計画に変更はないことから、最終年度である2026年12月期の目標は、事業収益5,524百万円（3年間CAGR42.7%）、営業利益1,086百万円、経常利益1,072百万円、当期純利益834百万円。安定的なロイヤリティ収入に加え、契約一時金とマイルストンが増加することと新規連結寄与で3期連続の営業黒字確保を目指す。2026年12月期の想定為替レートは、1米ドル120.00円。

# 同社の強みと弱み

株式会社シェアードリサーチでは、同社の強みを以下の3点だと考える。

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

2）「特許」を数百件保有すること

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

一方、弱みは以下の3点だと考える。

1）創薬モダリティ*（創薬手法）が低分子に偏っていること

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

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

3）研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

# 主要経営指標の推移

| 損益計算書 | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 会予 |
| **事業収益** | **154** | **146** | **705** | **1,419** | **745** | **1,703** | **1,107** | **2,776** | **2,918** | **1,901** | **4,535** |
| 前年比 | -32.5% | -5.5% | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.7% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 138.5% |
| **事業費用** | **2,276** | **2,010** | **1,465** | **1,570** | **1,820** | **1,719** | **1,593** | **2,068** | **2,052** | **2,239** | **4,222** |
| 前年比 | -3.8% | -11.7% | -27.1% | 7.1% | 15.9% | -5.5% | -7.3% | 29.8% | -0.8% | 9.1% | 88.6% |
| **営業利益** | **-2,123** | **-1,865** | **-760** | **-150** | **-1,075** | **-16** | **-486** | **708** | **866** | **-337** | **313** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | 22.4% | - | - |
| 営業利益率 | - | - | - | - | - | - | - | 25.5% | 29.7% | - | 6.9% |
| **経常利益** | **-1,942** | **-1,795** | **-721** | **-81** | **-1,065** | **22** | **-528** | **864** | **904** | **-293** | **290** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | 4.7% | - | - |
| 経常利益率 | - | - | - | - | - | 1.3% | - | 31.1% | 31.0% | - | 6.4% |
| **当期純利益** | **-465** | **-1,854** | **-728** | **-58** | **-1,105** | **5** | **-607** | **756** | **723** | **-324** | **236** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | -4.3% | - | - |
| 純利益率 | - | - | - | - | - | 0.3% | - | 27.2% | 24.8% | - | 5.2% |
| **一株当たりデータ　（円、株式分割調整後）** | | | | | | | | | | | |
| 期末発行済株式数　（千株） | 14,857 | 18,767 | 18,767 | 20,295 | 20,388 | 20,950 | 20,952 | 20,955 | 20,977 | 21,623 | |
| EPS（円） | -45.7 | -116.5 | -38.8 | -3.0 | -54.2 | 0.3 | -29.0 | 36.1 | 34.5 | -15.0 | 10.9 |
| EPS（潜在株式調整後）（円） | - | - | - | - | - | 0.3 | - | 36.0 | 34.5 | - | |
| DPS（円） | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| BPS（円） | 315 | 240 | 201 | 240 | 189 | 220 | 191 | 228 | 262 | 282 | |
| **貸借対照表　（百万円）** | | | | | | | | | | | |
| 現金・預金・有価証券 | 1,891 | 1,840 | 1,428 | 2,268 | 1,671 | 2,174 | 1,394 | 2,345 | 3,675 | 3,715 | |
| **流動資産合計** | **3,261** | **2,708** | **1,806** | **3,322** | **1,962** | **3,067** | **2,834** | **4,004** | **4,822** | **4,957** | |
| 有形固定資産 | 85 | 261 | 249 | 216 | 318 | 249 | 333 | 299 | 391 | 574 | |
| 投資その他の資産計 | 1,844 | 1,769 | 1,951 | 1,516 | 1,738 | 1,488 | 1,051 | 897 | 1,020 | 1,311 | |
| 無形固定資産 | 12 | 14 | 13 | 10 | 34 | 32 | 33 | 34 | 24 | 30 | |
| **資産合計** | **5,202** | **4,752** | **4,019** | **5,064** | **4,052** | **4,837** | **4,251** | **5,234** | **6,258** | **6,872** | |
| 短期有利子負債 | - | - | - | - | 1 | 1 | 18 | 22 | 46 | 77 | |
| **流動負債合計** | **262** | **200** | **190** | **149** | **164** | **183** | **187** | **401** | **494** | **389** | |
| 長期有利子負債 | - | - | - | - | 2 | 2 | 27 | 18 | 177 | 291 | |
| **固定負債合計** | **109** | **38** | **41** | **27** | **31** | **33** | **53** | **46** | **267** | **362** | |
| **負債合計** | **371** | **238** | **231** | **176** | **195** | **216** | **240** | **446** | **761** | **752** | |
| 自己資本 | 4,821 | 4,503 | 3,773 | 4,871 | 3,845 | 4,608 | 3,999 | 4,777 | 5,489 | 6,095 | |
| **純資産合計** | **4,831** | **4,514** | **3,788** | **4,888** | **3,857** | **4,621** | **4,011** | **4,788** | **5,497** | **6,120** | |
| 有利子負債（短期及び長期） | - | - | - | - | 3 | 2 | 46 | 39 | 222 | 368 | |
| **キャッシュフロー計算書　（百万円）** | | | | | | | | | | | |
| 営業活動によるキャッシュフロー | -2,081 | -2,117 | -681 | -307 | -404 | -531 | -289 | 366 | 1,480 | -719 | |
| 投資活動によるキャッシュフロー | -796 | 666 | -441 | 534 | -368 | 216 | 225 | -279 | -48 | -135 | |
| 財務活動によるキャッシュフロー | 762 | 1,702 | - | 1,007 | 99 | 696 | -7 | -16 | -30 | 793 | |
| **財務指標** | | | | | | | | | | | |
| 総資産経常利益率（ROA） | -32.8% | -36.1% | -16.4% | -1.8% | -23.4% | 0.5% | -11.6% | 18.2% | 15.7% | -4.5% | |
| 自己資本純利益率（ROE） | -8.8% | -39.8% | -17.6% | -1.3% | -25.3% | 0.1% | -14.1% | 17.2% | 14.1% | -5.6% | |
| 自己資本比率 | 92.7% | 94.8% | 93.9% | 96.2% | 94.9% | 95.3% | 94.1% | 91.3% | 87.7% | 88.7% | |

出所：会社データよりSR社作成
*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。
**事業費用には、事業原価、研究開発費、その他の販売費および一般管理費を含む

# 直近更新内容

## 胃酸分泌抑制剤tegoprazanのマレーシアにおける販売承認に関して発表

2024年9月26日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazan（以下 テゴプラザン）のマレー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 inno.N Corporation（195940、KOSDAQ、以下 HKイノエン社）に導出した胃酸分泌抑制剤テゴプラザンについて、サブライセンス先企業であるPharmaniaga Logistics Sdn Bhd（KLSE 7081、以下 Pharmaniaga社）が、マレーシア保険省医薬品規制庁（National Pharmaceutical Regulatory Agency (NPRA)、以下 マレーシア当局）より販売承認を取得した、と発表した。

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

同社はHKイノエン社に日本を除いた全世界における開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および世界各国のサブライセンス先企業によって、テゴプラザンに関する事業活動が進められている。現在、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルーおよびチリの計9カ国でテゴプラザン製品が販売されているほか、米国を含む37カ国において発売準備、承認審査、臨床試験等の取り組みが行われている。

マレーシアにおいて、2021年にHKイノエン社はPharmaniaga社との間で製品供給契約を締結し、以後、Pharmaniaga社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めてきた。このほどマレーシア当局による審査が完了し、販売承認の取得に至った。今回、承認が得られた適応疾患は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法の4つである。現地での製品名はK-CAB®で、2025年上半期の販売開始が予定されている。

東南アジアにおける消化性潰瘍薬の市場規模は520百万米ドル（約720億円、1米ドル140円換算）であり、今後の成長がさらに期待されている。テゴプラザンは、製品販売中であるフィリピン、シンガポールおよびインドネシアの3カ国と今回承認が得られたマレーシアに加え、タイとベトナムでも承認審査中の段階にあり、東南アジアにおける経済規模上位6カ国における足場を着実に拡大している。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。同販売承認取得に伴う一時金はないものの、同社はテゴプラザンの販売国拡大が中長期に同社の事業収益および企業価値の向上に寄与すると考える。同社は、今後も引き続きHKイノエン社との連携をより強固にし、開発支援ならびにサブライセンス契約支援を継続して実施し、胃酸関連疾患治療の選択肢を広げることで、患者のQOL向上に一層貢献できるよう努める、としている。

## ストックオプション（新株予約権）の発行に関して発表

2024年9月13日

ラクオリア創薬株式会社は、ストックオプション（新株予約権）の発行に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は2024年9月13日開催の取締役会において、同社および同社子会社の従業員に対し、ストックオプションとして新株予約権を発行することを決議した。同社の業績向上に対する意欲・士気を一層高め、更なる企業価値の向上を図るインセンティブを付与するとともに、株主との価値共有を進めることを目的として、無償にてストックオプションを発行する。なお、現時点で未定の部分については割当予定日である2024年9月30日に決定を予定している。

| | |
|---|---|
| 新株予約権の目的である株式の種類および数 | 同社普通株式　209,000株 |
| 新株予約権割当対象者・割り当てる新株予約権の数 | 同社従業員　66名　1,570個、同社子会社従業員　21名　520個 |
| 新株予約権の割当予定日 | 2024年9月30日 |
| 新株予約権行使期間 | 2026年9月14日～2034年9月13日 |

# 胃酸分泌抑制剤tegoprazanのコロンビアにおける販売承認に関して発表

2024年9月2日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazanのコロンビ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 inno.N Corporation（195940、KOSDAQ、以下 HKイノエン社）に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazan（以下 テゴプラザン）について、サブライセンス先企業であるLaboratorios Carnot（非上場、以下 Carnot社）が、コロンビア医薬食料品監督庁（Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos (INVIMA)、以下 コロンビア当局）より販売承認を取得した、と発表した。

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

同社はHKイノエン社に日本を除いた全世界における開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および世界各国のサブライセンス先企業によって、テゴプラザンに関する事業活動が進められている。中南米地域においては、HKイノエン社はこれまでにCarnot社を含む2社とライセンス契約を締結し、テゴプラザンの開発・販売活動が18カ国で行われている。

Carnot社がコロンビア当局から販売承認を取得したことで、中南米ではメキシコ、ペルー、チリ、ドミニカ共和国、ホンジュラス、ニカラグア、グアテマラ、エルサルバドルおよびコロンビアの9カ国で販売承認を取得することとなった。これら9カ国のうち、2023年にメキシコおよびペルーで「Ki-CAB®」として販売が開始され、2024年にはチリでも製品販売に至った。Carnot社は、残りの既承認国6カ国においても、年内の販売開始を見込んでいる。

同社によれば、Carnot社のテリトリーである中南米17カ国における消化性潰瘍薬の市場規模は、5,740億ウォン（約63,140百万円、1韓国ウォン0.11円換算）である。HKイノエン社とCarnot社は、中南米におけるテゴプラザンの裾野を広げるべく、昨年から医療従事者を対象とした学術会議を開催するなど、積極的なプロモーション活動を展開している。特にメキシコでは大きく注目され、発売からわずか7カ月でメキシコにおける抗潰瘍薬市場のトップ10に入り、今年はトップ5に入る見込みである。さらに、先般、メキシコの消化器病学会が新たな診療ガイドラインを発表し、胃食道逆流症の初期治療からP-CABの処方を推奨したことから、中南米の抗潰瘍薬市場におけるテゴプラザンの市場はさらに拡大すると予想されている。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がCarnot社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。同販売承認取得に伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領し、2024年12月期第3四半期の事業収益として計上する。なお、2024年12月期の連結業績への影響については、今期の連結業績予想に織り込み済みであり、現時点では通期業績予想を修正しないが、業績予想の修正が必要となる場合は、確定次第、速やかに開示する、としている。

# Elanco Animal Health Inc.によるグレリン受容体作動薬Eluracat®のフランスでの販売開始およびマイルストン達成に伴う一時金受領に関して発表

2024年8月29日

ラクオリア創薬株式会社は、Elanco Animal Health Inc.（NYSE ELAN、以下 エランコ社）より、同社がエランコ社へ導出したグレリン受容体作動薬Eluracat®（capromorelin／RQ-00000005／AT-002、以下 本薬剤）が、慢性疾患を伴う猫の体重減少管理の薬として、フランスで発売されたとの通知を受けた。これにより、同社がマイルストン達成に伴う一時金を受領することが確定した、と発表した。

（リリース文へのリンクはこちら）

本薬剤は、摂食や消化管運動を促す空腹ホルモンであるグレリンを模倣して食欲を刺激するcapromorelinの経口液剤である。本薬剤による猫の体重増加は、その作用機序から食物摂取量の増加と代謝変化によるものと考えられる。米国では、慢性腎疾患の猫の体重減少を管理する薬として、2021年から販売されている（製品名Elura®）。欧州では、2023年、エランコ社が本薬剤の製造販売承認を取得し発売準備を進めていたが、このたび、製品名Eluracat®としてフランスで発売された。今回のフランスにおける販売開始により、本薬剤は2カ国で販売されたこととなる。本薬剤は、日本に加え、英国およびその他の欧州諸国、ブラジル、カナダでも承認されており、本薬剤の販売国が今後さらに拡大するものと同社は期待している。

同社は2010年に、Aratana Therapeutics Inc.（現・エランコ社）と、本薬剤の有効成分であるcapromorelin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している。本件により、同社は、マイルストン達成に伴う一時金200万米ドルを受領し、2024年12月期第3四半期の事業収益に計上する。

なお、同社が2024年2月14日に公表した今期業績予想を現時点では修正せず、業績予想の修正が必要となる場合は、確定次第、速やかに開示するとした。

# 米国シロス社が急性骨髄性白血病を対象とした臨床試験への新規患者組み入れ中止を発表

2024年8月14日

ラクオリア創薬株式会社は、連結子会社テムリック株式会社（以下、テムリック社）の導出先である米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下 シロス社）が、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/TM-411/SY-1425、以下 タミバロテン）について、急性骨髄性白血病（AML）を対象として実施中の第 II 相臨床試験への新規の患者組み入れを中止する、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

テムリック社がシロス社に導出したタミバロテンは、レチノイン酸受容体のαサブタイプ（RARα）の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。シロス社は2021年9月から、RARA陽性の高齢者などで標準化学療法に適さないAML患者を対象に、ベネトクラクスとアザシチジンの3剤併用療法として行っている第 II 相臨床試験（SELECT-AML-1）を実施している。

2024年8月9日に、SELECT-AML-1に登録された51例のデータを用いて、拘束力のない無益性解析を含む中間解析が行われた。無益性解析とは、事前に規定した仮説と評価基準に基づいて試験結果を統計的に予測し、試験継続の要否を判断するための解析である。この中間解析の結果、80例のデータを用いた最終解析で優位性を示す確率は低いと考えられたことから、シロス社は新規の患者登録を中止すると決定した。なお、タミバロテンをベネトクラクスとアザシチジンと併用することによる新たな安全性の懸念は認められなかった。シロス社は、2024年9月に開催される第12回血液腫瘍学会（SOHO）年次総会で、SELECT-AML-1試験のデータを発表する予定である。

一方、シロス社はRARA遺伝子が過剰発言している未治療高リスクMDS患者を対象とした第 III 相臨床試験（SELECT-MDS-1試験）において、タミバロテンと高リスクMDSの標準治療薬アザシチジンの併用による試験を継続している。SELECT-MDS-1試験は、2024年第1四半期に無益性解析をクリアして予定通り進行しており、第4四半期半ばまでにピボタルCRデータが得られる見込みである。

テムリック社は2015年9月に北米及び欧州におけるタミバロテンのがん治療薬しての開発販売権をシロス社に許諾するライセンス契約を締結し、開発段階に応じたマイルスト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。同社によれば、本件による2024年12月期の通期連結業績への影響はない。

# XIAP阻害剤（複素環化合物）の日本における特許査定

2024年7月22日

ラクオリア創薬株式会社は、連結子会社のファイメクス株式会社（以下、ファイメクス社）が創出したXIAP阻害剤（複素環化合物）の物質特許（出願番号：特願2020-534723）について、日本における特許査定の連絡を受領した、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

特許査定とは各国特許庁の審査により、特許権を与える価値がある出願発明であると判断された場合に示される評価で、特許料の納付により登録特許となり、該当国における特許権が発生する。今般特許査定を受けた複素環誘導体は、ファイメクス社が創出した新規の構造を有するXIAP阻害剤であり、E3リガーゼであるXIAPに結合して抗腫瘍作用を示すことが期待されている。XIAP（X-linked inhibitor of apoptosis） は、IAP（Inhibitor of apoptosis protein）ファミリーに属するE3リガーゼである。XIAPは、多くのがんで発現が亢進しており、がんの悪性化や予後不良と正相関することが報告されているため、XIAPを阻害することにより抗がん作用を示すことが期待されている。また、VHLやCRBNとならんで標的タンパク質分解誘導剤に利用可能なE3リガーゼのひとつとして広く知られている。

ファイメクス社が注力する標的タンパク質分解誘導剤は、E3リガーゼに結合する化合物を用いて標的タンパク質を分解に導く技術であり、当該化合物を標的タンパク質分解誘導剤に利用することも可能である。ファイメクス社では、当該化合物群を用いた標的タンパク質分解誘導剤の開発を進めている。

日本における特許査定は、昨年の米国での特許査定 (出願番号: 17/263,580）に続く2カ国目となる。現在、ヨーロッパ、中国をはじめ世界各国で同様の特許が出願済みもしくは審査中の状態にあり、今後、ファイメクス社の知的財産権がさらに強化されていくと同社は期待する。

なお、同社によれば、本特許査定による2024年12月期の同社連結業績への影響はないが、特許査定を受けたXIAP阻害剤（複素環化合物）は、今後の開発等を通じて中長期的に同社グループの企業価値向上に寄与すると同社は考える。

# Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬（複素環誘導体）の米国における特許査定

2024年7月17日

ラクオリア創薬株式会社は、同社が創出し、米国で審査中であったNav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネル遮断薬（複素環誘導体）の物質特許（出願番号 17/417,182）について、同日に特許査定の連絡を受けた、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

今回特許査定を受けた複素環誘導体は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネルの遮断作用を有する新規な化合物群であり、同社がこれまでに特許査定を受けたものとは異なる新たな分子骨格に基づくものである。特許査定とは各国特許庁の審査により、特許権を与える価値がある出願発明であると判断された場合に示される評価で、特許料の納付により登録特許となり、該当国における特許権が発生する。今回の特許査定により、米国において同社の知的財産権が強化される事となった。

ナトリウムチャネルは、筋肉細胞や神経細胞などの興奮性細胞の細胞膜表面に多く発現するイオンチャネルの一種であり、細胞内外の電位変化に応じて開口し、ナトリウムイオンを選択的に細胞内へ透過させる。ナトリウムチャネルが開口することで活動電位が発生し、知覚神経では痛みの伝達を担っている。現在までに9種類（Nav1.1～Nav1.9）のナトリウムチャネルが報告されており、ナトリウムチャネルの遮断薬は疼痛をはじめ様々な疾患領域の治療薬として期待されている。

同社が創出したナトリウムチャネル遮断薬は、Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャネルに対して特異的に作用し、複数の疼痛モデル動物において高い有効性を示すことが確認されている。一方で、心臓で重要な働きをするNav1.5ナトリウムチャネルに対して良好な選択性を示すことから、心血管系に対する副作用を抑制する可能性のある画期的新薬として、様々な医療ニーズに応えることが期待される。

なお、同社によれば、本特許査定による2024年12月期の業績への影響はない。特許査定を受けた複素環誘導体は、今後の開発等を通じて、中長期的に同社の企業価値の向上に寄与するものと同社は考える。

# 業績動向

## 四半期実績推移

| 四半期業績推移（累計） | 22年12月期 | | | | 23年12月期 | | | | 24年12月期 | | 23年12月期 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q | 進捗率 | 通期会予 |
| 事業収益 | 339 | 1,447 | 1,904 | 2,918 | 370 | 1,014 | 1,495 | 1,901 | 649 | 1,411 | 31.1% | 4,535 |
| 前年同期比 | -48.3% | 9.6% | 17.3% | 5.1% | 9.2% | -29.9% | -21.5% | -34.8% | 75.1% | 39.1% | | 138.5% |
| 事業費用 | 459 | 896 | 1,403 | 2,052 | 479 | 1,037 | 1,604 | 2,239 | 604 | 1,565 | 61.7% | 2,538 |
| 前年同期比 | -9.4% | -10.9% | -7.4% | -0.8% | 4.4% | 15.8% | 14.3% | 9.1% | 26.0% | 50.9% | | 13.4% |
| 事業費比率 | 135.3% | 61.9% | 73.7% | 70.3% | 129.4% | 102.3% | 107.2% | 117.7% | 93.1% | 110.9% | | 56.0% |
| 研究開発費 | 264 | 528 | 840 | 1,249 | 268 | 603 | 934 | 1,373 | 359 | 833 | | |
| 前年同期比 | 3.0% | 6.4% | 7.6% | 10.8% | 1.7% | 14.2% | 11.2% | 9.9% | 33.8% | 38.0% | | |
| 研究開発費比率 | 77.7% | 36.5% | 44.1% | 42.8% | 72.4% | 59.5% | 62.5% | 72.2% | 55.4% | 59.0% | | |
| 営業利益 | -120 | 551 | 501 | 866 | -109 | -23 | -108 | -337 | 45 | -154 | - | 313 |
| 前年同期比 | - | 75.1% | 367.6% | 22.4% | - | - | - | - | - | - | | - |
| 営業利益率 | - | 38.1% | 26.3% | 29.7% | - | - | - | - | 6.9% | - | | 6.9% |
| 経常利益 | -70 | 681 | 676 | 904 | -110 | 37 | -36 | -293 | -77 | -278 | - | 290 |
| 前年同期比 | - | 57.4% | 183.8% | 4.7% | - | -94.6% | - | - | - | - | | - |
| 経常利益率 | - | 47.1% | 35.5% | 31.0% | - | 3.6% | - | - | - | - | | 6.4% |
| 四半期純利益 | -121 | 469 | 467 | 723 | -148 | 25 | -118 | -324 | -78 | -324 | - | 236 |
| 前年同期比 | - | 55.0% | 175.9% | -4.3% | - | -94.6% | - | - | - | - | | - |
| 四半期純利益率 | - | 32.4% | 24.5% | 24.8% | - | 2.5% | - | - | - | - | | 5.2% |

| 四半期業績推移 | 22年12月期 | | | | 23年12月期 | | | | 24年12月期 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q |
| 事業収益 | 339 | 1,108 | 457 | 1,014 | 370 | 644 | 481 | 406 | 649 | 762 |
| 前年同期比 | -48.3% | 66.6% | 51.1% | -12.1% | 9.2% | -41.9% | 5.3% | -60.0% | 75.1% | 18.5% |
| 事業費用 | 459 | 437 | 507 | 649 | 479 | 558 | 566 | 635 | 604 | 961 |
| 前年同期比 | -9.4% | -12.5% | -0.6% | 17.4% | 4.4% | 27.8% | 11.6% | -2.1% | 26.0% | 72.2% |
| 事業費比率 | 135.3% | 39.4% | 111.0% | 64.0% | 129.4% | 86.7% | 117.6% | 156.5% | 93.1% | 126.1% |
| 研究開発費 | 264 | 265 | 312 | 409 | 268 | 335 | 331 | 438 | 359 | 474 |
| 前年同期比 | 3.0% | 10.0% | 9.8% | 17.8% | 1.7% | 26.6% | 6.2% | 7.2% | 33.8% | 41.4% |
| 研究開発費比率 | 77.7% | 23.9% | 68.2% | 40.3% | 72.4% | 52.0% | 68.8% | 108.0% | 55.4% | 62.1% |
| 営業利益 | -120 | 671 | -50 | 365 | -109 | 85 | -85 | -229 | 45 | -199 |
| 前年同期比 | - | 304.5% | - | -39.2% | - | -87.3% | - | - | - | - |
| 営業利益率 | - | 60.6% | - | 36.0% | - | 13.3% | - | - | 6.9% | - |
| 経常利益 | -70 | 751 | -5 | 228 | -110 | 147 | -73 | -257 | -77 | -200 |
| 前年同期比 | - | 356.5% | - | -63.6% | - | -80.5% | - | - | - | - |
| 経常利益率 | - | 67.8% | - | 22.5% | - | 22.8% | - | - | - | - |
| 四半期純利益 | -121 | 590 | -2 | 256 | -148 | 174 | -143 | -206 | -78 | -246 |
| 前年同期比 | - | 416.8% | - | -56.3% | - | -70.6% | - | - | - | - |
| 四半期純利益率 | - | 53.3% | - | 25.3% | - | 27.0% | - | - | - | - |

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

# 2024年12月期第2四半期（中間期）実績（2024年8月14日発表）

## 業績概要

### 2024年12月期第2四半期（中間期）（2024年1月～6月）累計実績

- 事業収益：1,411百万円（前年同期比39.1%増）
- 営業損失：154百万円（前期は23百万円の損失）
- 経常損失：278万円（同37百万円の利益）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：324百万円（同25百万円の利益）
- 研究開発費：833百万円（同38.0%増）

当中間期における2024年12月期連結業績予想に対する事業収益の進捗率は、31.1%となった。2024年3月にファイメクス社の発行済株式と新株予約権のすべてを取得して連結子会社としたことにより、当第2四半期からファイメクス社の業績が反映されている。同社によれば、事業収益、費用ともにほぼ計画通りであった。

### 増収減益の要因

当中間期累計期間は、ペット用医薬品3製品に加え、テゴプラザンのグローバル展開が順調に拡大し、ロイヤルティが998百万円（前年同期比36.3%増）、契約一時金やマイルストンなどその他が413百万円（同46.5%増）となった。その他の収益には、中東・北アフリカにおけるテゴプラザンのサブライセンスに係る一時金と、ファイメクス社が2024年5月にアステラス製薬社から受領した一時金200百万円などが含まれる。

事業費用の総額は1,565百万円（前年同期比50.9%増）、うち事業原価は227百万円（同85.6%増）、研究開発費は833百万円（同38.0%増）、その他販売費及び一般管理費は506百万円（同62.1%増）となった。研究開発費の増加やファ

イメクス社の費用などコストの増加により、営業損失154百万円を計上した。為替差益75百万円などの営業外収益を計上したが、デリバティブ評価損52百万円、シンジケートローン契約によるアレンジメントフィー140百万円を営業外費用に計上し、経常損失、四半期純損失となった。

## 事業収益の内訳

| 四半期業績推移（累計） | 22年12月期 | | | | 23年12月期 | | | | 24年12月期 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q | 1-3Q | 1-4Q | 1Q | 1-2Q |
| 事業収益 | 339 | 1,447 | 1,904 | 2,918 | 370 | 1,014 | 1,495 | 1,901 | 649 | 1,411 |
| 前年同期比 | -48.3% | 9.6% | 17.3% | 5.1% | 9.2% | -29.9% | -21.5% | -34.8% | 75.1% | 39.1% |
| ロイヤルティ | 184 | 698 | 1,083 | 1,487 | 350 | 732 | 1,198 | 1,605 | 551 | 998 |
| 前年同期比 | 35.3% | 43.0% | 69.2% | - | 90.2% | 4.9% | 10.6% | 7.9% | 57.4% | 36.3% |
| 構成比 | 54.2% | 48.2% | 56.9% | 51.0% | 94.5% | 72.2% | 80.1% | 84.4% | 85.0% | 70.7% |
| その他（契約一時金・マイルストン） | 155 | 748 | 820 | 1,431 | 20 | 282 | 297 | 297 | 97 | 413 |
| 前年同期比 | -70.2% | -10.1% | -16.6% | - | -87.1% | -62.3% | -63.8% | -79.3% | 385.0% | 46.5% |
| 構成比 | 45.7% | 51.7% | 43.1% | 49.0% | 5.4% | 27.8% | 19.9% | 15.6% | 15.0% | 29.3% |
| 研究開発費 | 264 | 528 | 840 | 1,249 | 268 | 603 | 934 | 1,373 | 359 | 833 |
| 前年同期比 | 3.0% | 6.4% | 7.6% | 10.8% | 1.7% | 14.2% | 11.2% | 9.9% | 33.8% | 38.0% |
| 研究 | 255 | 482 | 761 | 1,024 | 219 | 485 | 780 | - | - | - |
| 前年同期比 | - | - | - | - | -14.1% | 0.6% | 2.5% | - | - | - |
| 構成比 | 96.7% | 91.2% | 90.6% | 82.0% | 81.6% | 80.4% | 83.5% | - | - | - |
| 開発 | 8 | 46 | 79 | 225 | 49 | 118 | 154 | - | - | - |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 512.5% | 156.5% | 94.9% | - | - | - |
| 構成比 | 3.0% | 8.7% | 9.4% | 18.0% | 18.3% | 19.6% | 16.5% | - | - | - |
| **四半期業績推移（3カ月）** | **22年12月期** | | | | **23年12月期** | | | | **24年12月期** | |
| （百万円） | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q |
| 事業収益 | 339 | 1,108 | 457 | 1,014 | 370 | 644 | 481 | 406 | 649 | 762 |
| 前年同期比 | -48.3% | 66.6% | 51.1% | -12.1% | 9.2% | -41.9% | 5.3% | -60.0% | 75.1% | 18.5% |
| ロイヤルティ | 184 | 514 | 385 | 404 | 350 | 382 | 466 | - | 551 | 447 |
| 前年同期比 | 35.3% | 46.0% | 153.3% | - | 90.2% | -25.7% | 21.0% | - | 57.4% | 17.0% |
| 構成比 | 54.2% | 46.4% | 84.2% | 39.9% | 94.5% | 59.4% | 96.8% | - | 85.0% | 58.6% |
| その他（契約一時金・マイルストン） | 155 | 593 | 72 | 611 | 20 | 262 | 15 | - | 97 | 316 |
| 前年同期比 | -70.2% | 90.1% | -52.3% | - | -87.1% | -55.8% | -79.2% | - | 385.0% | 20.6% |
| 構成比 | 45.7% | 53.5% | 15.8% | 60.3% | 5.4% | 40.7% | 3.1% | - | 15.0% | 41.4% |
| 研究開発費 | 263 | 265 | 312 | 634 | 268 | 335 | 331 | 438 | 359 | 474 |
| 前年同期比 | 76.5% | 59.7% | -250.1% | 5.5% | 1.9% | 26.4% | 6.1% | -30.9% | 34.0% | 41.4% |
| 研究 | 255 | 227 | 279 | 392 | 219 | 266 | 295 | - | - | - |
| 前年同期比 | - | - | - | - | -14.1% | 17.2% | 5.7% | - | - | - |
| 構成比 | 97.0% | 85.7% | 89.4% | 61.8% | 81.7% | 79.4% | 89.1% | - | - | - |
| 開発 | 8 | 38 | 33 | 242 | 49 | 69 | 36 | - | - | - |
| 前年同期比 | - | - | - | - | 512.5% | 81.6% | 9.1% | - | - | - |
| 構成比 | 3.0% | 14.3% | 10.6% | 38.2% | 18.3% | 20.6% | 10.9% | - | - | - |

出所：会社データよりSR社作成
*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意

# パイプラインの状況

## 上市済4製品のロイヤルティは好調

### ペット用医薬品の状況

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT®（一般名：グラピプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE®（一般名：カプロモレリン）、および慢性腎不全の猫の体重減少管理の適応を持つELURA®（一般名：カプロモレリン）の売上高は、引き続き順調に推移している。ELURA®については2024年2月、Elanco社が農林水産省から日本国内における製造販売承認を取得し、Elanco社によって製品発売に向けた準備が進められている。2023年に製造販売承認を取得した欧州では、2024年8月にフランスで販売が開始され、マイルストン達成に伴う一時金を受領することが確定した。

### テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB®）は、韓国における売り上げが引き続き順調に推移した。 韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは14%で、引き続きシェア1位を維持している。 HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB®」の当第2四半期累計期間における売り上げ（院外処方データ）は、919億ウォン（前年同期比24.1%増、約10,109百万円、1韓国ウォン0.11円換算）となった。特に口腔内崩壊錠（OD錠）の売り上げが伸長し、売上比率は約27%を占めている。2024年7月には、びらん性胃食道逆流症治療後の維持療法に使用される低用量（25mg）のOD錠の販売が開始され、今後OD錠の売上比率がさらに上昇すると同社は予想する。

なお、韓国においてテゴプラザンの物質特許に対して「消極的権利範囲確認審判*」が請求されていたが、2024年6月にすべて棄却されており、K-CAB®の独占販売権はより強固に守られると同社は考える。

*消極的権利範囲確認裁判とは、韓国において特許権者ではない第三者が請求するもので、その第三者が実施する技術などが、特許範囲に属さないことの確認を求めて請求を行うもの。テゴプラザンの韓国における特許期間は出願から20年で、最大5年の延長が可能のため、HKイノエン社は2031年までの独占販売権を有する。

同社はHKイノエン社との間でテゴプラザンの開発・販売および製造の再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社は2028年までに世界100カ国に進出することを目指している。HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が、開発・製造・販売にかかる取り組みを進めており、当中間期累計期間には、メキシコのLaboratories Carnot（非上場、以下、Carnot社）がチリ、ドミニカ共和国、ホンジュラスおよびニカラグアの4カ国において現地当局から販売承認を取得し、同社はHKイノエン社との契約に基づき一時金を受領した。

当中間期末時点で、テゴプラザンは世界46カ国に進出しており、テゴプラザンが販売されているのは、韓国、中国、フィリピン、モンゴル、メキシコ、インドネシア、シンガポール、ペルーの8カ国である。タイ、ベトナム、アルゼンチンなど、東南アジアや中南米の国々でも承認審査が進行中であるほか、米国およびカナダなどの国々で臨床開発が進められている。

テゴプラザンのロイヤルティは、韓国における販売は毎四半期、中国は半期ごとで第1四半期に前年の7月～12月、第3四半期に当年6月～12月の売り上げが計上される。他の上市済みの国の寄与はまだ小さいものの、堅調に売上を伸ばしている。

## 導出済パイプラインの状況

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

Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）に導出したTRPM8遮断薬（RQ-00434739/XG2002）については、豪州における第Ⅰ相臨床試験の実施許可を現地の研究倫理委員会から取得したことに伴い、同社は一時金を受領した。第Ⅰ相臨床試験では、健康なボランティアを対象とした用量漸増試験により、TRPM8遮断薬の忍容性および薬物動態を評価することで、その後の臨床試験に重要となる情報を取得する予定である。

2024年4月、同社は消化器疾患、代謝性疾患および線維症への応用が期待される4つの開発化合物（以下 同化合物）について、米Velovia Pharma, LLC（非上場、以下 Velovia Pharma社）との間で、動物用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を締結した。Velovia Pharma社から1つまたは複数の同化合物に対してオプションが行使された場合、同社はオプション行使料を受け取るとともに、その後の開発の進捗に応じたマイルストンの支払いを受ける権利を取得する。同化合物を含有する動物用医薬品が販売に至った場合、同社は製品売上高に基づく販売ロイヤルティおよび売上マイルストンをVelovia Pharma社から受け取る権利を有する。

P2X7受容体拮抗薬については、サブライセンス先のリリー社が米国で実施した3疾患に関する第Ⅱ相臨床試験が終了し、試験結果が公表された。安全性については大きな問題はなく良好だったものの、有効性については主要評価項目に未達となった。現在リリー社において、今後の開発計画を検討中である。

## 導出準備パイプラインの状況

導出準備プログラムについては、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。グレリン受容体作動薬の前臨床試験は年内に終了し、第Ⅰ相臨床試験の開始は2025年12月期下期を予定している。また、テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、第1四半期に引き続き第2四半期にも提携先候補企業との協議を進めている。その他の導出準備プログラムについても、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせて、提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

## 探索研究段階のプログラム

探索研究段階では、新たな開発化合物の創出に向けた探索研究プログラムに注力しているほか、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、既存技術と新たな取り組みの相乗効果により次世代の自社創薬バリューチェーンの確立を目指し、自社単独の研究に加えてスタートアップや創薬ベンチャーとの協業を進めている。

同社が強みとしてきた低分子創薬の強化にあたり、化合物デザインAIやiPS細胞由来神経細胞などの新技術の活用を進めるほか、がん治療薬の創出を目標としてmRNAを標的とする低分子医薬品の創出に向けた共同研究を株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下 Veritas In Silico社）と進めている。当中間期累計期間には、化合物の探索が順調に進展し、目標とする特性を細胞レベルで示す低分子化合物を複数取得した。また、2023年に湘南ヘルスイノベーションパーク（神奈川県藤沢市）に設置した新たな研究拠点では、新規モダリティを用いた創薬に取り組んでいる。STAND Therapeutics株式会社（非上場、以下、STAND社）との間で、難病・希少疾患治療薬の創製を目指した細胞内抗体技術の創薬応用に関する共同研究を行っている。

## タミバロテンの状況

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。RARA遺伝子過剰発現を有する高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）患者を対象として実施している第III相臨床試験（SELECT-MDS-1）について、シロス社は主要評価項目の解析に必要な症例登録を第1四半期に完了し、完全寛解率に関するデータが第4四半期中頃までに得られる見通しである。

AMLについては2024年8月、RARA遺伝子の過剰発現を有し、従来の化学療法が適さない未治療AML患者を対象に実施していた第II相臨床試験（SELECT-AML-1）について、新規の患者組入を中止するとシロス社が発表した。登録された51例のデータを用いた中間解析の結果、80例のデータを用いた最終解析で優位性を示す確率が低いと考えられたためで、シロス社は同年9月に開催された第12回血液腫瘍学会（SOHO）年次総会でデータを公表（リンクはこちら）した。

## ファイメクス社の子会社化

2024年3月、同社はファイメクス社の発行済株式および新株予約権のすべてを取得し、完全子会社化した。ファイメクス社は、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤を用いて、新規医薬品の研究開発を進める創薬ベンチャー企業である。独自のE3リガーゼ結合分子と創薬基盤技術「RaPPIDS™」を基に、従来治療薬の創製がきわめて困難（アンドラッガブル）とされてきた標的に対する革新的な医薬品の創出を目指している。

ファイメクス社の子会社化に伴い、第2四半期からファイメクス社の業績が反映されている。標的タンパク質分解誘導剤の共同研究に関する契約に基づき、ファイメクス社は200百万円をアステラス製薬社から受領し、2024年12月期第2四半期の事業収益として計上している。

ファイメクス社のビジネスモデルは、自社で研究開発を進めたパイプラインの導出によって収益を上げるパイプライン型と、製薬会社との共同研究により収益を上げるプラットフォーム型を組み合わせた、ハイブリッド型である。ファイメクス社の子会社化により、同社はプラットフォーム技術の獲得による創薬バリューチェーンの強化、ビジネスモデルのハイブリッド化による収益の増加、がん領域の強化と拡充を見込んでいる。

同社はファイメクス社の子会社化に際し、株式などの取得時に支払う一時金（クロージング対価）は4,500百万円で、シンジケートローンにより3,500百万円を調達し、2024年3月に支払いを完了した。ファイメクス社の子会社化に関連して同社の資産と負債は大幅に増加し、自己資本比率は55.6%（前期末比33.1%ポイント低下）となった。

# 2024年12月期通期見通し

| | 22年12月期 | | | 23年12月期 | | | 24年12月期 | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 上期実績 | 下期実績 | 通期実績 | 上期実績 | 下期実績 | 通期実績 | 上期実績 | 下期会予 | 通期会予 |
| **事業収益** | **1,447** | **1,471** | **2,918** | **1,014** | **887** | **1,901** | **1,411** | **3,124** | **4,535** |
| 前年同期比 | 9.6% | 1.1% | 5.1% | -29.9% | -39.7% | -34.8% | 39.1% | 252.1% | 138.5% |
| **事業費用** | **896** | **1,156** | **2,052** | **1,037** | **1,201** | **2,239** | **1,565** | | **4,222** |
| 前年同期比 | -10.9% | 8.8% | -0.8% | 15.8% | 3.9% | 9.1% | 50.9% | | 88.6% |
| 売上原価 | 105 | 127 | 232 | 122 | 123 | 245 | 227 | | |
| 前年同期比 | -40.2% | -12.9% | -27.8% | 16.9% | -3.3% | 5.8% | 85.6% | | |
| 研究開発費 | 528 | 720 | 1,249 | 603 | 769 | 1,373 | 833 | | |
| 前年同期比 | 6.4% | 14.2% | 10.8% | 14.2% | 6.8% | 9.9% | 38.0% | | |
| 研究開発費比率 | 36.5% | 49.0% | 42.8% | 59.5% | 86.7% | 72.2% | 59.0% | | |
| 販売費及び一般管理費 | 263 | 309 | 572 | 312 | 309 | 621 | 506 | | |
| 前年同期比 | -21.4% | 8.0% | -7.9% | 18.7% | 0.1% | 8.6% | 62.1% | | |
| 販管費比率 | 18.2% | 21.0% | 19.6% | 30.8% | 34.8% | 32.7% | 35.8% | | |
| **営業利益** | **551** | **315** | **866** | **-23** | **-314** | **-337** | **-154** | **467** | **313** |
| 前年同期比 | 75.1% | -19.9% | 22.4% | - | -199.7% | -138.9% | - | -248.8% | - |
| 営業利益率 | 38.1% | 21.4% | 29.7% | -2.3% | -35.4% | -17.7% | -10.9% | 15.0% | 6.9% |
| **経常利益** | **681** | **223** | **904** | **37** | **-330** | **-293** | **-278** | **568** | **290** |
| 前年同期比 | 57.4% | -48.2% | 4.7% | -94.6% | -248.0% | -132.4% | - | -271.9% | - |
| 経常利益率 | 47.1% | 15.2% | 31.0% | 3.6% | -37.2% | -15.4% | -19.7% | 18.2% | 6.4% |
| **当期純利益** | **469** | **254** | **723** | **25** | **-349** | **-324** | **-324** | **560** | **236** |
| 前年同期比 | 55.0% | -43.9% | -4.3% | -94.6% | -237.5% | -144.7% | - | -260.4% | - |
| 純利益率 | 32.4% | 17.3% | 24.8% | 2.5% | -39.4% | -17.0% | -23.0% | 17.9% | 5.2% |

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。

## 2024年12月期通期（2024年1月～12月）連結業績予想（2024年2月14日発表）

- 事業収益：4,535百万円（前期比138.5%増）
- 営業利益：313百万円（前期は337百万円の損失）
- 経常利益：290百万円（同293百万円の損失）

- 親会社株主に帰属する当期純利益：236百万円（同324百万円の損失）
- 1株当たり当期純利益：10.91円（同14.98円の損失）

当中間期における2024年12月期連結業績予想に対する事業収益の進捗率は、31.1%となった。連結子会社化により、当第2四半期からファイメクス社の業績が反映されている。なお、第2四半期（中間期）決算発表時点で、業績予想に変更はない。

ロイヤルティ以外の収益としては、2024年8月にフランスでEluracat®の販売が開始され、マイルストン達成に伴う一時金を受領することが確定し、2百万米ドルが第3四半期の事業収益に計上されることとなった。また、同年9月にはコロンビアにおいてサブライセンス先がテゴプラザンの販売承認を取得したことに伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領して第3四半期の事業収益として計上する。

導出活動を継続している日本のテゴプラザンについては、交渉における3つの課題をすべてクリアし、開発リスクや将来得られる収益などについて提携候補先企業における検討が行われている段階である。契約一時金やマイルストーン、ロイヤルティの料率などについては大枠でほぼ受容範囲であり、候補先企業の決定により細かい経済条件などが決定されることとなる。

### 期初予想の前提

2024年12月期の事業収益は、テゴプラザン、 GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®の安定したロイヤルティ収入に加え、テゴプラザンの日本における権利導出を含む新たなライセンス契約の締結による契約一時金、および開発の進捗に伴うマイルストン収入を見込んでいる。また、連結子会社化により第2四半期からファイメクス社の業績が反映される。ファイメイクス社が実施中または新たに獲得する共同研究による収益は、1,100百万円を予想する。想定為替レートは、1米ドル135.0円（前期は138.0円）。

猫の体重減少管理の適応を持つELURA®は2022年3月に欧州で承認申請を行っており、2023年5月には欧州医薬品庁（EMA）動物用医薬品委員会（CVMP）が肯定的意見を採択していた。審査は順調に進展しているものの、年内のマイルストン達成には間に合わないとみて、同社は期ずれという判断をした。2024年12月期に発売に至ることでマイルストンを達成し、製品の販売が開始されると同社は見込んでいる。また、日本においても2024年2月に承認取得済である。

同社は2023年12月期の決算発表と同時に、2024年12月期から2026年12月期までの3年間の中期経営計画を発表した。期ずれによる修正とファイメクス社の子会社化に伴い、2024年12月期の事業収益目標が1,569百万円上方修正された。また、2025年12月期の事業収益目標もファイメクス社の寄与と、グレリン受容体作動薬導出時期変更により201百万円上方修正された。ビジネスモデルや競争力の源泉、投資戦略など事業計画に変更はないことから、最終年度である2026年12月期の目標は、事業収益5,524百万円（3年間CAGR42.7%）、営業利益1,086百万円、経常利益1,072百万円、当期純利益834百万円。安定的なロイヤリティ収入に加え、契約一時金とマイルストンが増加することと新規連結寄与で3期連続の営業黒字確保を目指す。2026年12月期の想定為替レートは、1米ドル120.00円。

## 2024年中に想定される主なイベント

**ELURA®（ネコの体重減少）**

欧州・日本：承認取得済　→　フランスにおいて2024年8月発売、日本でも2024年12月期に発売予定

**テゴプラザン（胃酸分泌抑制剤）**

- 米国：第Ⅲ相臨床試験中　→　2024年 第Ⅲ相臨床試験終了
- 日本：導出活動中　→　2024年12月期 導出契約締結

**タミバロテン（抗悪性腫瘍薬）**

- MDS：第Ⅲ相臨床試験中　→　2024年12月期第1四半期 患者組入完了、第4四半期半ば 結果発表
- AML：第Ⅱ相臨床試験中　→　新規患者組入中止、2024年9月 第Ⅱ相無作為化パート結果公表済（SOHO2024）

**P2X7受容体拮抗薬（疼痛）**

第Ⅱ相臨床試験データ解析中　→　2024年12月期 第Ⅱ相臨床試験結果・主要評価項目未達、今後の開発計画をリリー社において検討中

**CB2作動薬（CIPN/IBSに伴う疼痛）**

第Ⅰ相臨床試験中　→　2024年12月期 次段階の臨床試験開始

**TRPM8遮断薬（慢性疼痛）**

前臨床試験終了　→　2024年12月期 豪州で第Ⅰ相臨床試験開始、Xgene社からマイルストンを受領（第1四半期）、2024年12月期 第Ⅰ相臨床試験結果判明

**グレリン受容体作動薬（便秘、悪液質）**

前臨床試験実施中・治験薬製造　→　2024年12月期 前臨床試験完了、2025年12月期 第Ⅰ相臨床試験開始（米国など海外）

# 過去の期初会社予想と実績の差異

| 期初会社予想と実績 | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 |
| 事業収益（期初予想） | 300 | 600 | 950 | 1,100 | 1,388 | 2,022 | 2,129 | 2,738 | 2,605 | 2,799 |
| 事業収益（実績） | 154 | 146 | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 |
| **期初会予と実績の差異** | **-48.7%** | **-75.8%** | **-25.8%** | **29.0%** | **-46.4%** | **-15.8%** | **-48.0%** | **1.4%** | **12.0%** | **-32.1%** |
| 営業利益（期初予想） | -1,684 | -1,395 | -819 | -760 | -698 | 187 | 70 | 420 | 420 | 260 |
| 営業利益（実績） | -2,123 | -1,865 | -760 | -150 | -1,075 | -16 | -486 | 708 | 866 | -337 |
| **期初会予と実績の差異** | - | - | - | - | - | - | - | **68.5%** | **106.2%** | - |
| 経常利益（期初予想） | -1,685 | -1,415 | -819 | -761 | -680 | 195 | 85 | 427 | 420 | 242 |
| 経常利益（実績） | -1,942 | -1,795 | -721 | -81 | -1,065 | 22 | -528 | 864 | 904 | -293 |
| **期初会予と実績の差異** | - | - | - | - | - | **-88.9%** | - | **102.3%** | **115.3%** | - |
| 当期純利益（期初予想） | -282 | -1,661 | -825 | -767 | -686 | 153 | 13 | 343 | 342 | 183 |
| 当期純利益（実績） | -465 | -1,854 | -728 | -58 | -1,105 | 5 | -607 | 756 | 723 | -324 |
| **期初会予と実績の差異** | - | - | - | - | - | **-96.5%** | - | **120.3%** | **111.5%** | - |

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

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

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

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

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

# 中期事業計画

| | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 25年12月期 | 26年12月期 | 3年間 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 連結 | 会予 | 新目標 | 目標 | CAGR |
| **事業収益** | **2,776** | **2,918** | **1,901** | **4,535** | **4,386** | **5,524** | |
| 前年比 | 150.7% | 5.1% | -34.8% | 138.5% | -3.3% | 25.9% | 42.7% |
| 既存事業 | | | | 3,435 | 3,036 | 3,574 | |
| 前年比 | | | | 80.7% | -11.6% | 17.7% | |
| 構成比 | | | | 75.7% | 69.2% | 64.7% | |
| ファイメクス社寄与分 | | | | 1,100 | 1,350 | 1,950 | |
| 前年比 | | | | - | 22.7% | 44.4% | |
| 構成比 | | | | 24.3% | 30.8% | 35.3% | |
| **事業費用** | **2,068** | **2,052** | **2,538** | **4,222** | **3,995** | **4,437** | |
| 前年比 | 29.8% | -0.8% | 23.7% | 66.4% | -5.4% | 11.1% | 20.5% |
| 事業費比率 | 74.5% | 70.3% | 133.5% | 93.1% | 91.1% | 80.3% | |
| **営業利益** | **708** | **866** | **-337** | **313** | **391** | **1,086** | |
| 前年比 | - | 22.4% | - | - | 24.9% | 177.7% | - |
| 営業利益率 | 25.5% | 29.7% | - | 6.9% | 8.9% | 19.7% | |
| **経常利益** | **864** | **904** | **-293** | **290** | **371** | **1,072** | |
| 前年比 | - | 4.7% | - | - | 27.9% | 188.9% | - |
| 経常利益率 | 31.1% | 31.0% | - | 6.4% | 8.5% | 19.4% | |
| **当期純利益** | **756** | **723** | **-324** | **236** | **295** | **834** | |
| 前年比 | - | -4.3% | - | - | 25.0% | 182.7% | - |
| 当期純利益率 | 27.2% | 24.8% | - | 5.2% | 6.7% | 15.1% | |

出所：会社データよりSR社作成
*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意

# 前中期経営計画（2021年12月期～2023年12月期）の振り返り

同社は2021年3月から新しい経営体制となり、2021年6月に2023年12月期までの3カ年の中期経営計画を策定した。この中期経営計画の達成状況は、3年間の収益目標は部分達成、研究は2化合物の創出目標に対して1化合物創出で部分達成、開発は未達成、導出も部分達成となった。

## 前中期経営計画達成状況と今後の計画

| | 2023年12月期から3年間の事業目標 | 2023年12月期の達成状況 | 今後の計画 |
|---|---|---|---|
| **収益** | ・2025年12月期までの3期黒字<br>・3期累計事業収益9,900百万円 | 未達成 | 2024年12月期以降の黒字化を目指す |
| **研究** | ・2024年12月期までに開発候補化合物1個創出 | 0個創出 | 2026年12月期までに開発候補化合物2個を創出 |
| **開発** | ・グレリン受容体作動薬の自社開発<br>2023年12月期　前臨床試験終了<br>2024年12月期　臨床試験開始 | 前臨床試験終了が2024年12月期に期ずれ | 2025年の臨床試験開始へ後ろ倒し |
| **導出** | ・導出準備プログラムから毎年1件導出 | 1件締結 | テゴプラザン日本導出は2024年12月期にずれ込み |

出所：会社資料よりSR社作成

# 新中期経営計画（2024年12月期～2026年12月期）

## 3期連続黒字化達成を目指す

同社は2023年12月期の決算発表と同時に、2024年12月期から2026年12月期までの3年間の中期経営計画を発表した。最終年度の目標は、事業収益5,524百万円（3年間CAGR42.7%）、営業利益1,086百万円、経常利益1,072百万円、当期純利益834百万円。安定したロイヤルティ収入に加え、契約一時金とマイルストンが増加すること、ファイメクス社の子会社化（後述）で事業収益が倍増することにより、3期連続の営業黒字確保を目指す。想定為替レートは、2024年12月期1米ドル135.00円、2025年12月期1米ドル125.00円、2026年12月期1米ドル120.00円。

## 企業価値・株主価値向上のための重点3施策

同社は、株価純資産倍率（PBR）を株価成長率（PER）と自己資本利益率（ROE）に分解し、成長期待によってPERを向上させ、投資回収によってPERを向上させるため、以下の3つを企業価値・株主価値向上のための重点施策とする。

### 1．創薬バリューチェーンの強化

新規モダリティへの挑戦と注力疾患領域の拡大により、成長性の向上（PER）を目指す。

### 2．開発パイプラインの拡充

新たな開発候補品の創出と臨床開発による価値向上により、成長性の向上（PER）を目指す。

### 3．事業収益規模の拡大

プラットフォーム事業の実施と大型契約が狙える分野への進出により、成長性の向上（PER）と収益性の向上（ROE）を目指す。

### 新事業計画のポイント

- M&A：標的タンパク質分解誘導剤（TPD）技術を有するファイメクス社を買収し、プラットフォーム事業を獲得
- 収益：2024年12月期から2026年12月期までの3カ年の事業収益は14,400百万円（前回発表比45.5%増）を見込む。ロイヤルティの順調な増加に加え、新たな導出契約やファイメクス社のプラットフォーム事業からの一時金収入を想定。
- 導出：導出準備プログラムから毎年1件以上のライセンス契約を予定。日本におけるテゴプラザンについては、2024年上半期中の契約締結を目指す。ファイメクス社のプラットフォーム事業から、毎年1件以上の共同研究契約を予定。
- 研究開発：オープンイノベーションを軸に、創薬バリューチェーンの強化を加速する。2026年12月期までに新規モダリティを含む2個の開発候補品の創出を予定。グレリン受容体作動薬の臨床試験は、2025年12月期に実施する計画。

### 事業収益の見込：3期累計14,400百万円

- 2024年12月期：テゴプラザンおよびペット用医薬品の売上が伸長し、ロイヤルティ収入が増加すると想定。日本におけるテゴプラザンの契約一時金、マイルストン収入などを見込む。ファイメクス社が実施中もしくは新たに獲得する共同研究による収益と合わせて、合計4,535百万円（前期比138.5%増）を予想。

- 2025年12月期：テゴプラザンのグローバル売上がさらに伸長し、ペット用医薬品の売上も堅調に推移すると想定。販売ロイヤルティ、契約一時金およびマイルストン収入、ファイメクス社のプラットフォーム事業による収益と合わせて、合計4,386百万円（同3.3%減）を見込む。

- 2026年12月期：テゴプラザンおよびペット用医薬品からのロイヤルティ収入は安定的に継続し、グレリン受容体作動薬などの契約一時金およびマイルストン収入なども見込む。ファイメクス社のプラットフォーム事業による収益と合わせて、合計5,524百万円（同25.9%増）を見込む。

## 成長戦略

### 企業価値・株主価値向上のためM&Aを実施

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

#### M&Aにより期待されるシナジー

| | |
|---|---|
| 経営資源 | ・パイプラインの獲得<br>・優秀人材の獲得<br>・新たな企業文化やイノベーションエンジン |
| 成長可能性の拡大 | ・創薬バリューチェーンの強化<br>・新たなモダリティの獲得<br>・がん領域へのさらなる進出 |
| 収益性の拡大 | ・収益機会の増加<br>・プラットフォーム型ビジネスへの拡充 |

出所：会社資料よりSR社作成

### 未開拓の創薬標的への挑戦

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

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

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

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

2022年、ファイメクス社はアステラス製薬社と複数の標的に対する共同研究に関する契約を締結した。当該共同研究契約に基づき、ファイメクス社は契約一時金500百万円および研究資金を受領した。医薬品候補物質の特定後はアステラス製薬社により開発が行われることとなり、ファイメクス社は標的プログラムごとに開発の進捗に応じたマイルストンを受領するとともに、製品化後は売上高に応じた販売マイルストンと一桁台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

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

### ファイメクス社のパイプライン

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

出所：ファイメクス社HPよりSR社作成

## 株式取得の理由

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

**① 創薬バリューチェーンの強化による事業の成長性と競争力の向上**

同社は従来、イオンチャネルやGPCRを標的とした低分子化合物の創薬研究基盤を強みとし、多くの医薬品候補物質を生み出している。2022年より「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、複数のスタートアップや創薬ベンチャー企業との協業を進めている。ファイメクス社のRaPPIDS™プラットフォームにより、標的タンパク質分解誘導剤という新たなモダリティに進出するための基盤技術を手にし、これまでアンドラッガブルであった標的分子や疾患領域をも創薬の対象とすることができる。ファイメクス社の子会社化により、同社が目指す次世代の自社創薬バリューチェーンの強化が大きく前進することが期待される。

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

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

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

**③ がん領域のさらなる強化と拡充**

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

## 株式取得の対価および方法

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

① クロージング対価

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

② アーンアウト対価

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

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

## オープンイノベーションによる創薬バリューチェーンの確立

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

1）創薬標的の拡張に向けた取り組み：株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下、VIS社）との共同研究

2）AIの活用に向けた取り組み：ソシウム株式会社との共同研究

3）モダリティ拡張に向けた取り組み：STAND Therapeutics株式会社との共同研究

4）パイプラインの価値最大化に向けた取り組み：株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所（東証GRT 4576、以下、DWTI社）との共同研究

5）イオンチャネル創薬への構造生物学活用の取組み：スイスleadXpro AG（非上場、以下、leadXpro社）との協業

# 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。2023年の医薬品売上高世界3位の製薬会社であるファイザー社は、2007年に行った全世界の研究再編の一環として、日本法人中央研究所の閉鎖を決定した。これを受けて中央研究所はEBOにより独立し、2008年7月に同社が創設された。創設当時はファイザー社が同社の株式19%を有していたが、IPOのあと売却され、2023年12月期末時点では同社の株式の3.44%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®（ジプラシドン）、ダルバンス®（ダルババンシン）、エラキシス®（アニデュラファンギン）の日本における権利を譲受*した。当時開発中であったテゴプラザン、GALLIPRANT®（グラピプラント）は同社が開発を続けて既に上市済であり、現在進行している導出済プログラムと導出準備プログラムの中にも、開発段階やテーマとしてファイザー社から譲受したものが含まれている。

*同社が現在進めているパイプラインのうち、ファイザー社から譲受したプログラムは、候補化合物が決まっていない研究段階のものを含め、カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（テゴプラザン）、EP4拮抗薬（グラピプラント）、グレリン受容体作動薬（カプロモレリン）、5-$HT_4$、CB2、5-$HT_{2B}$など。2007年当時ファイザー社が消化器疾患から撤退する判断をした結果として同社が引き継いだ「テゴプラザン」に、価値があるとこだわって開発してきたことが、同社の成長の要となっている。

# 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薬ステージ

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

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

## 医薬品の開発プロセス

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

### 医薬品開発に要する期間と成功確率

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

ン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

| | プロセス | 期間 | 内容 | 同社の事業領域 |
|---|---|---|---|---|
| 研究 | 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 | ○ |
| 開発 | 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 | ○ |
| | 第Ⅱ相（フェーズ2） | | | |
| | 第Ⅲ相（フェーズ3） | | | |
| | 承認・申請 | 約1年 | 申請および規制当局による審査 | |
| | 販売開始まで | 合計9年～16年 | | |

出所：会社資料よりSR社作成

### 新薬の成功確率

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

出所：厚生労働省「医薬品産業ビジョン2021」よりSR社作成

# 同社の創薬モダリティ（創薬手法）

## 低分子医薬の開発

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（テゴプラザン）の導出に成功した。

化合物の合成・デザインに注力してきたファイザー社のノウハウにより、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はそのうち30万化合物程度のライブラリーである。

## 世界最速の研究サイクル：2週間

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

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

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

# 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ン収入、販売ロイヤルティの料率が低くなる傾向がある。そのため新経営陣は、研究開発中の新薬候補物質の有効性・効果をヒトに投与することによって確認されるPOC（Proof of Concept）までを自社で行い、将来的なパイプラインの価値の向上を図ることにシフトした。POCを確保するには第II相臨床試験まで行う必要があり、従来と比べて多額の研究開発費が必要となる。2023年12月期には2つのプロジェクトで自社開発を進めるため、事業費用は約2割増加

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

# 新規モダリティへの挑戦

医薬品は化学合成による低分子医薬品と、生体物質を利用したバイオ医薬品に大別される。低分子医薬は分子が小さく、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、価格が上乗せされる。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。同社が主な疾病領域とする疼痛や消化器系の疾患は、アンメットメディカルニーズが大きい神経変性疾患、遺伝病、希少疾患に比べて既存薬が比較的多く存在することから、上市時点における薬価が低くなり、ロイヤルティ収入も高額になりにくい。

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

# スタートアップ・創薬ベンチャーとの協業

### AIの活用により難病・希少疾患への適応を探る

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

### 新規モダリティ（細胞内抗体）でイオンチャネルを制御

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

### mRNA標的の低分子化合物で新たな抗がん剤創出を目指す

2022年12月には、株式会社Veritas In Silico（東証GRT 130A、以下 Veritas In Silico社）との共同研究により、メッセンジャーRNA（以下、mRNA）を標的とした画期的な低分子医薬品の創出に取り組むことを発表した。Veritas In Silico社は、mRNAを標的とする創薬に特化した、独自のプラットフォーム技術を有している。共同研究では、同社が定めるがん疾患に関連する複数の遺伝子を標的として、対応するmRNA上の標的構造の同定から、ハイスループットスクリーニングによるヒット化合物の取得、ヒット化合物の合成展開によるリード化合物の取得、リード化合物最適化による開発候補化合物の取得に至る、複数年の創薬研究を行う。

### イオンチャネルを標的とした同社化合物の眼疾患への適応を探る

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

**イオンチャネルの構造生物学的解析**

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

*リガンドとは、特定の受容体に特異的に結合する物質（アミノ酸、タンパク質、低分子化合物など）のこと。特定の疾患に対してターゲットとなる受容体を特定し、リガンドとの相互作用やリガンドによる薬剤の選択的作用などにより、治療効果を発揮する薬剤の開発が行われる。
[*2] クライオ電子顕微鏡（Cryogenic電子顕微鏡）とは、液体窒素（−196°C）冷却下でタンパク質などの生体分子に対して電子線を照射し、試料の観察（立体構造解析）を行うための装置。

## スタートアップ・創薬ベンチャーの保有技術

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

出所：会社資料よりSR社作成

# 収益構造

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

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。2023年12月期の事業収益1,901百万円（前期比34.8%減）のうち、約70%をロイヤルティ収入、約30%を契約一時金やマイルストン収入が占める。

## 同社の収益構造

| | |
|---|---|
| 契約一時金収入 | ライセンスアウトや共同研究開発の契約締結時に得られる収入。 |
| | 同社が開発した新薬候補の価値とポテンシャルへの対価。 |
| マイルストン収入 | 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

| | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 |
| 合計 | 154 | 146 | 705 | 1,419 | 745 | 1,703 | 1,107 | 2,776 | 2,918 | 1,901 |
| 前年比 | -32.5% | -5.5% | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.6% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% |
| 米国 | - | - | 646 | 818 | 278 | 761 | 549 | 1,004 | 1,142 | 1,091 |
| 前年比 | - | - | - | 26.5% | -66.0% | 173.8% | -27.8% | 82.7% | 13.8% | -4.5% |
| 構成比 | - | - | 91.6% | 57.6% | 37.3% | 44.7% | 49.6% | 36.2% | 39.1% | 57.4% |
| 日本 | 131 | 106 | 50 | 471 | 349 | 196 | 28 | 1,187 | 742 | 6 |
| 前年比 | 86.9% | -19.4% | -52.6% | 841.1% | -25.8% | -43.7% | -85.9% | 4175.6% | -37.5% | -99.2% |
| 構成比 | 85.0% | 72.5% | 7.1% | 33.2% | 46.8% | 11.5% | 2.5% | 42.8% | 25.4% | 0.3% |
| アジア | 20 | 40 | 9 | 131 | 121 | 746 | 530 | 585 | 1,034 | 801 |
| 前年比 | - | 100.0% | -77.5% | 1355.0% | -7.8% | 517.9% | -28.9% | 10.3% | 76.8% | -22.6% |
| 構成比 | 13.0% | 27.5% | 1.3% | 9.2% | 16.2% | 43.8% | 47.9% | 21.1% | 35.4% | 42.1% |
| 欧州 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 構成比 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| その他 | 3 | - | - | - | - | - | - | - | - | 4 |
| 前年比 | -84.7% | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 構成比 | 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

# パイプラインの概要

## 製薬会社基準の研究プロセスや業務手順に基づく豊富なパイプライン

同社は、前身のファイザー社中央研究所における創薬研究開発のノウハウや手法を受け継ぎ、また引き継いだ研究を継続しており、たくさんのシーズがあることから、次々と候補品を生み出すことができる。製薬企業基準のSOP（Standard Operating Procedures：標準業務手順書）に基づく高い技術力により、イオンチャネルをターゲットとした難度の高い創薬を行って、5本のプロジェクトを早期に導出している。同社は上市済みの4品目（テゴプラザン、GALLIPRANT®、ENTYCE®、ELURA®）に加え、イオンチャネルを含む導出済プロジェクト13化合物、導出準備プロジェクト7化合物の豊富な開発パイプラインを有している。

また、探索研究段階のパイプラインは2024年2月時点で9プログラムあり、自社だけでなく、企業やアカデミアとの共同研究を行っている。2018年3月には名古屋大学と産学協同研究センター設置契約を締結し、名古屋大学内で薬効解析部門および新薬創成科学部門の2つの協同研究部門を設置した。医薬品候補化合物の創出を目指した研究を行っており、産学連携による創薬の加速化も可能である。恒常的に7～10プログラムの探索研究を実施することで、継続的に画期的な開発候補化合物を創出できる、と同社は考えている。

# 導出済パイプライン（ヒト）

## 導出済プログラム（ヒト）

| プログラム名 | 一般名 化合物コード | 主適応症 | 導出対象地域 | 開発段階 |
|---|---|---|---|---|
| テゴプラザン（カリウムイオン競合型 アシッドブロッカー（P-CAB）K-CAB®） | RQ-00000004 （tegoprazan） | 胃食道逆流症 | 韓国 | 販売中（2019年3月） |
| | | | 中国 | 販売中（2022年4月） |
| | | | フィリピン | 販売中（2022年10月） |
| | | | モンゴル | 販売中（2022年10月） |
| | | | メキシコ | 販売中（2023年5月） |
| | | | インドネシア | 販売中（2023年7月） |
| | | | シンガポール | 販売中（2023年9月） |
| | | | ペルー | 販売中（2023年10月） |
| | | | タイ、ベトナム、マレーシア | 承認審査中 |
| | | | 中南米15カ国 | 承認申請準備中、チリ他4カ国で承認取得 |
| | | | ブラジル | 承認申請準備中 |
| | | | 米国・カナダ | 米国でP3実施中（2022年～） |
| | | | インドなど7カ国 | P3実施中・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 | 高リスク骨髄異形成症候群（MDS） | 北米および欧州 | P3実施中（米国） |
| | | 急性骨髄性白血病（AML） | | P2実施中（米国） |
| EP4拮抗薬 | RQ-00000007 （grapiprant） | 疼痛 | 全世界 | P2終了（米国） |
| | | | | P1終了（中国） |
| | | がん | 全世界 | P1終了（米国） |
| | | | | P1実施中（中国） |
| | RQ-00000008 | 変形性関節症・自己免疫疾患ほか | 全世界 | 前臨床試験終了 |
| 5-HT4部分作動薬 | RQ-00000009 | アルツハイマー病 | 全世界 | P1終了（米国） |
| COX-2阻害薬 | RQ-00317076 | 疼痛 | 全世界 | P2a終了（米国） |
| | | | | P1実施中（中国） |
| CB2作動薬 | RQ-00202730 | 鎮痛など | 全世界 | P1実施中（英国） |
| 選択的ナトリウムチャネル遮断薬 | 非開示 | 鎮痛・鎮痒 | 全世界 | 非開示 |
| P2X7受容体拮抗薬 | RQ-00466479 AK1780 | 神経障害性疼痛 | 全世界 | P2実施中（米国ほか） |
| 特定のイオンチャネル | 非開示 | 消化器領域 | 全世界 | 非開示 |
| TRPM8遮断薬 | RQ-00434739 | 慢性疼痛 | 日本を除く全世界 | P1実施中（豪州） |
| ナトリウムチャネル遮断薬 | RQ-00350215 | 慢性疼痛 | 全世界 | 前臨床試験実施中 |
| IRAK-M分解誘導薬 | FIM-001 | がん | 全世界 | 前臨床試験実施中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年8月現在）

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

## 韓国HKイノエン社に日本以外の権利を導出済

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

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

## 武田の「タケキャブ®」が先行

2015年2月に販売された武田薬品工業株式会社（東証PRM 4502、以下、武田薬品工業社）のボノプラザン（商品名：タケキャブ®）は、カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB：Pottasium-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、ボノプラザンは酸による活性化を必要とせず、胃酸を分泌するために必要なカリウムイオンの結合を阻害することで、速やかで有用な胃酸分泌作用を現す（出所：武田薬品工業社）。P-CABは既存のPPIやH2RA（H2ブロッカー：ヒスタミンH2受容体拮抗剤）に置き換えが進み、2021年にタケキャブ®は4.1%の薬価引き下げとなったものの、薬価ベースで111,100百万円（前年比13.5%増）を売り上げ、国内医療用

医薬品売上高第3位となった。 2023年におけるタケキャブ®の売上高は115,556百万円（同3.3%増）で、第5位であった。

### 韓国ではNo.1シェアを維持

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2023年の販売額（院外処方データ）は、1,582億ウォン（前期比19.8%増、約17,402百万円、1韓国ウォン0.11円換算）と順調に推移し、2019年から2023年までの累計処方実績が合計5,085億ウォン（約55900百万円、同）となった。 2024年6月時点における韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは14%で、1位を維持している。

2024年8月末時点で、HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が、韓国を除く45カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。現在テゴプラザンが販売されているのは、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポール、ペルーの8カ国となった。2024年2月にはチリにおいて、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、サブライセンス先企業が取得した。このほか、アルゼンチンなど、20以上の国で現地の規制当局による承認審査が行われている。米国においてもサブライセンス先のBraintree社が第Ⅲ相臨床試験を実施しており、2024年中に第Ⅲ相臨床試験が終了する見通しである。

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

2022年7月にはびらん性胃食道逆流症治癒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癒後の維持療法、の5つである。また、2023年1月には健康保険給付の適用を受けて、びらん性胃食道逆流症維持療法向けに新製剤が発売された。新製剤のテゴプラザンの含有量は既存の製剤の半量で、治癒した状態を維持する。これにより、テゴプラザンは韓国国内で販売されているP-CAB系の胃酸分泌抑制剤の中で、唯一びらん性胃食道逆流症発症時から治癒後のすべての段階で使用できる薬剤となった。

## テゴプラザンの特徴

胃食道逆流症（GERD）は、胃の内容物、特に胃酸が食道内に逆流することによって、胸やけなどの特徴的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。

*吞酸（どんさん）は、胃の内容物が喉元まで上がって、再び下がることで、口やのどに酸っぱい、あるいは苦い感じがこみあげてくる症状。
*2 ガストリンは、主に胃の幽門前庭部の細胞から分泌されるホルモン。正常な状態では食後に一時的に上昇して胃酸の分泌を促す。異常に分泌されて極端な過酸状態になると、長期にわたって血清ガストリン値が長高値で維持されると消化性潰瘍や神経内分泌腫瘍発生のリスクが高まるため、ガストリン値の上昇には注意が必要という報告がなされており、ガストリンが高値になると投薬中止となることがある。

# テゴプラザンの販売地域拡大による収益の拡大

## ライセンス先のHKイノエン社による販売拡大計画

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

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

## 販売地域拡大によりロイヤルティ収入の増加を見込む

2022年5月には、HKイノエン社のサブライセンス先であるMetro社が、びらん性胃食道逆流症をはじめとする4つの適応疾患に対する販売承認をフィリピンで取得、同年11月から販売を開始した。フィリピンにおける消化性潰瘍薬の市場規模は6千万米ドル（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。

テゴプラザンは2024年8月時点で、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルーで販売され、チリほか中南米４カ国で承認を取得したほか、合計36カ国に進出しており、開発・承認審査中・販売準備中である。同社によれば、潜在的な消化性潰瘍薬のグローバル市場は2兆円と予測されており、HKイノエン社は2028年までに100カ国への進出を目指している。最も大きな市場は北米の400,000百万円、次いで中国310,000百万円である。グローバル市場におけるテゴプラザンの獲得シェアを10%、ロイヤルティ料率5%と仮定すると、同社が受領するロイヤルティ収入は年間10,000百万円と同社は試算している。

### 同社が受領するロイヤルティの試算

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

出所：会社資料よりSR社作成

### HKイノエン社の主要国・地域における開発状況と市場規模

| 国・地域 | 導出先* | 販売・開発状況 | 市場規模 （百万円） |
|---|---|---|---|
| 韓国 | HKイノエン社 | 2019年発売、シェア1位を維持 | 120,000 |
| 中国 | Luoxin社 | 2022年4月発売 | 450,000 |
| フィリピン | MPPI社 | 2022年10月発売 | 5,000 |
| モンゴル | Monos社 | 2022年10月発売 | - |
| メキシコ | Carnot社 | 2023年5月発売 | 66,000 |
| インドネシア | Kalbe社 | 2023年7月発売 | 50,000 |
| シンガポール | UITC社 | 2023年9月発売 | 50,000 |
| ペルー | Carnot社 | 2023年10月発売 | 66,000 |
| タイ、ベトナム、マレーシア | Pond's社、Lyhn farma社、Pharmaniaga社 | 承認審査中 | 50,000 |
| アルゼンチンなど中南米15カ国 | Carnot社 | 承認審査中、チリほか中南米４カ国で承認取得 | 66,000 |
| ブラジル | Eurofarma社 | 申請準備中 | 88,000 |
| 米国・カナダ | Braintree社 | P3試験実施中 | 460,000 |
| インドなど7カ国 | Dr.Reddy社 | P3試験実施中・準備中 | 140,000 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年5月現在）
*導出先は、HKイノエン社のサブライセンス先を含む。
*[2]市場規模は、HKイノエン社資料（2022年9月）より。換算レートは、1韓国ウォン＝0.1円

## 中国における消化性潰瘍薬の成長可能性

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

### 胃食道逆流症の患者数・消化性潰瘍薬の市場規模

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

出所：会社資料よりSR社作成
*換算レートは、1韓国ウォン＝0.1円、1中国元＝19.6円、1米ドル＝125円

## 中国における販売計画

中国では、Luoxin社が「泰欣赞®（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ン収入として300百万円を受領しており、同社は今後の売上に応じたロイヤルティを受け取ることになる。サブライセンス先であるため、HKイノエン社を経由したロイヤルティ収入であり、ロイヤルティの受領には半年程度のタイムラグがあると同社はみている。

# EP4拮抗薬（RQ-00000007、grapiprant）

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

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

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

## CB2作動薬（RQ-00202730）

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

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

## P2X7受容体拮抗薬（RQ-00466479）

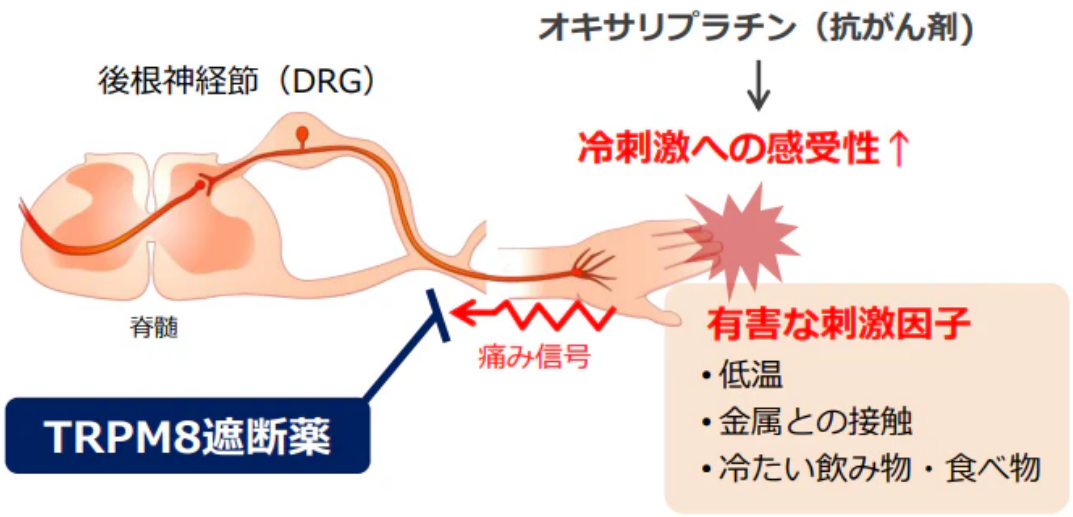
P2X7受容体拮抗薬は、2018年3月にライセンス契約を締結した旭化成ファーマ社との共同研究から創出された化合物である。末梢性神経障害性疼痛の治療薬を目指して第Ⅰ相臨床試験が終了しており、旭化成ファーマ社がライセンス契約を締結したリリー社が、第Ⅱ相臨床試験以降のグローバル開発を行う。同社は旭化成ファーマ社とのライセンス契約に基づき、商業化に成功した場合、同社は旭化成ファーマの収益に対して一定の料率でロイヤルティ収入を得ることとなっている。2022年11月、リリー社が第Ⅱ相臨床試験を開始してマイルストンを達成し、同社は旭化成ファーマ社から一時金4百万米ドル（約500百万円、1米ドル125円換算）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

2024年8月、サブライセンス先のリリー社が米国で実施した3疾患に関する第Ⅱ相臨床試験の試験結果が公表された。安全性については大きな問題はなく良好だったものの、有効性については主要評価項目に未達となった。現在リリー社において、今後の開発計画を検討中である。

## TRPM8遮断薬（RQ-00434739）

TRPM8は、同社において創出したプログラムである。摂氏28度以下の冷刺激またはメントール（ミント）によって活性化される温度感受性イオンチャネルで、慢性疼痛をはじめとするさまざまな慢性疾患への関与が示唆されている。同社が創製した選択的TRPM8遮断薬（アザスピロ誘導体）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と痛みのメカニズム




出所：会社資料

2021年9月、同社は日本を除く全世界を対象としたTRPM8遮断薬の独占的な開発・製造・販売権を、香港のXgene社に供与するライセンス契約を締結した。Xgene社は疼痛治療薬の開発に向けて前臨床段階移行を実施し、2024年3月には豪州当局から第Ⅰ相臨床試験の開始を承認された。同社は契約一時金に加え、開発段階に応じたマイルストンおよび販売額に応じたロイヤルティ収入を受領することになっている（具体的な達成条件や金額については非開示）。

2024年5月、Xgene社は豪州において第Ⅰ相臨床試験を開始した。第Ⅰ相臨床試験では健康なボランティアを対象とした用量漸増試験により、TRPM8遮断薬の忍容性および薬物動態を評価することで、その後の臨床試験に重要となる情報を取得する予定である。

## ナトリウムチャネル遮断薬（RQ-00350215）

ナトリウムチャネルは、カリウムチャネルなど他のイオンチャネルとともに、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第Ⅰ相臨床試験を実施している。

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

# 連結子会社テムリック社のパイプライン

## タミバロテン（TM-411）（レチノイン酸受容体α作動薬：抗がん剤）

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

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

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

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

### 米国シロス社への導出

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

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

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

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

シロス社は、未治療高リスクMDS患者を対象とした、高リスクMDSの標準治療薬アザシチジンとの併用による第Ⅲ相臨床試験において、一次解析対象患者190名の登録を完了予定である。また、ピボタルデータを2024年第4四半期半ばまでに公表し、その後NDA申請を行う計画である。また、高齢者などで標準化学療法に適さないAML患者を対象に、ベネトクラクスとアザシチジンの3剤併用療法として行っている第Ⅱ相臨床試験の安全性導入パートは、2022年12月にデータが公表された。公表された有望なデータに基づき、シロス社は無作為化試験パートに進む計画を発表、2023年12月に無作為化試験パートの結果を発表した。

2024年8月、SELECT-AML-1に登録された51例のデータを用いて、拘束力のない無益性解析を含む中間解析が行われた。無益性解析とは、事前に想定した仮説と評価基準に基づいて試験結果を統計的に予測し、試験継続の要否を判断するための解析である。この中間解析の結果、80例のデータを用いた最終解析で優位性を示す確率は低いと考えられたことから、シロス社は新規の患者登録を中止すると決定した。なお、タミバロテンをベネトクラクスとアザシチジンと併用することによる新たな安全性の懸念は認められなかった。

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ンおよび上市後のロイヤルティを受け取る権利を有する。なお、タミバロテンは米国で骨髄異形成症候群（MDS）と急性骨髄性白血病（AML）を対象として、欧州で急性骨髄性白血病（AML）を対象として、オーファンドラッグ指定*を取得済である。2022年7月には欧州においてがん幹細胞*2の増殖抑制剤の用途特許（国立研究開発法人産業技術総合研究所との共同出願）を取得した。また同年8月には、欧州医薬品庁（EMA：European Medical Agency）が、骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたオーファンドラッグ指定に関する肯定的意見を出したことをシロス社が発表した。

*オーファンドラッグ指定とは、患者数が少なく（米国200千人以下、欧州10千人に5人未満、日本5万人未満）、生命に大きな影響を与える希少疾病の治療に対する薬剤開発の支援を目的とした制度。オーファンドラッグ指定を受けた薬剤は、審査上の優遇措置や開発費の助成、販売開始からの期限付先発権保護など、様々なメリットを受けることができる。
*2 がん幹細胞とは、幹細胞の性質（分裂して同じ細胞を作り出す「自己複製能」といろいろな細胞に分化できる「多分化能」）をもったがん細胞で、自己複製を行いながらがん細胞の供給源ともなる悪性細胞。がん幹細胞には、正常な幹細胞そのものががん化したものと、ある程度分化した細胞が長期に炎症を起こしてがん幹細胞化したものがある。前者は骨肉腫などの小児がんや血液がんに多くみられ、細胞分裂が遅いため放射線治療や抗がん剤が効きにくく、再発や転移を起こす原因と考えられている。

2023年1月に米国FDAから高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）を対象に、また2024年4月には急性骨髄性白血病（AML）を対象としたファストトラック指定を受けており、優先審査や審査の迅速化を同社は期待している。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換をより頻繁に行うことができ、さらに臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速審査の対象となる可能性がある。

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

| 一般名 | タミバロテン |
|---|---|
| 作用機序 | TM-411はRARαに高い親和性を示し、遺伝子の発現を調節することにより、白血病細胞の分化誘導やがん細胞の増殖抑制作用を示す。この抑制作用は、IL-6の産生およびIL-6R発現の抑制、IGFBP-3の発現亢進、VEGF依存性血管新生の抑制などを示し、様々ながん腫への応用が考えられる。 |
| | 一方、骨髄中の造血幹細胞CAKー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。上市している3品は、現在エランコ社により販売されている。

## 導出済プログラム（ペット）

| プログラム名 | 一般名・化合物コード | 主適応症 | 実施地域 | 開発段階 |
|---|---|---|---|---|
| EP4拮抗薬　GALLIPRANT® | RQ-00000007 （grapiprant） | 変形性関節症（犬） | 米国 | 販売中 |
| | | | 欧州 | 販売中 |
| | | | 日本 | 販売中 |
| グレリン受容体作動薬 ENTYCE® | RQ-00000005 （capromorelin） | 食欲不振（犬） | 米国 | 販売中 |
| グレリン受容体作動薬 ELURA® | | 慢性腎疾患の体重減少管理（猫） | 米国 | 販売中 |
| | | | 欧州 | 承認取得、販売中 |
| | | | 日本 | 承認取得、販売準備中 |
| COX-2阻害薬 | RQ-00317076 | 疼痛 | ー | 探索研究終了 |
| EP4拮抗薬 | RQ-00000008 | 変形性関節症ほか | 全世界 | 前臨床試験実施中 |
| 5-HT4作動薬 | RQ-00000010 | 腸管運動障害（犬・猫） | 全世界（動物） | POC試験実施中 |
| 特定の4化合物 | 非開示 | 評価中 | 全世界 | 評価中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年8月現在）

# GALLIPRANT®（EP4拮抗薬、一般名：グラピプラント）

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

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

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

ENTYCE®（エンタイス）は、犬の食欲不振症治療薬として、エランコ社が米国において販売している。また、慢性腎疾患（CKD：Chronic Kidney Disease）の猫の体重減少を管理する薬「ELURA®（エルーラ）」として米国で販売されており、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。欧州ではELURA®は2022年3月に承認申請を行っており、2023年5月には欧州医薬品庁（EMA）動物用医薬品委員会（CVMP）が肯定的意見を採択していた。2023年中に承認を取得しており、2024年12月期に製品の販売が開始されてマイルストンを達成すると同社は見込んでいる。 また、日本においても2024年2月に承認を取得した。

# 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、全世界と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。

## 新規ライセンス契約

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

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

日本において、ヒト向けの医療用医薬品の価格である「薬価」は、厚生労働省によって日本全国一律に定められている。一方、医薬品の流通過程では、医薬品卸会社が医療機関や保険薬局に卸売価格で販売を行うため、薬価との差が発生する。厚生労働省は保険給付の負担軽減のため、医薬品ごとに販売価格と販売量を調査し、その結果に基づいて毎年（2018年4月までは隔年）薬価改定を行い、価格を引き下げる。2024年4月の薬価改定までの過去5回では、医療費ベースで平均1.18%、薬剤費ベースで平均5.51%の引き下げが行われた。高額な治療薬が公的保険の適用となり、保険財政に大きな影響を与えると考えられ、このように段階的に引き下げられる仕組みである。そのため製薬企業にとっては、巨額の投資と長い開発期間を経て上市した医薬品から、計画通りの利益を得ることが難しい状況となっている。

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

### ペット用医薬品とヒト用医薬品の違い

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

出所：会社資料よりSR社作成

# 導出準備パイプライン

現在同社は、7本の導出準備パイプラインを保有する。7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 |
|---|---|---|---|---|
| テゴプラザン | tegoprazan<br>RQ-00000004 | 胃食道逆流症ほか | 日本 | 導出活動中 |
| 5-$HT_4$作動薬 | RQ-00000010 | 胃不全麻痺・機能性胃腸症・慢性便秘 | 全世界（ヒト） | P1終了 |
| 5-$HT_{2B}$拮抗薬 | RQ-00310941 | 下痢型過敏性腸症候群（IBS-D） | 全世界 | P1終了（英国） |
| モチリン受容体作動薬 | RQ-00201894 | 胃不全麻痺・機能性胃腸症・術後イレウス | 全世界 | 前臨床試験終了 |
| グレリン受容体作動薬 | RQ-00433412 | がんに伴う食欲不振・悪液質症候群・<br>脊髄損傷に伴う便秘 | 全世界 | 前臨床試験実施中 |
| IRAK-K分解誘導薬 | FIM-001 | 各種がん<br>（非小細胞肺がん、すい臓がんほか） | ー | 前臨床試験実施中 |
| TRPM8遮断薬 | RQ-00434739 | 疼痛 | 日本 | 前臨床試験検討中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年5月現在）

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

テゴプラザンは、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。

## ベスト・イン・クラスとなる可能性

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

## 日本におけるテゴプラザンの導出交渉長期化

2010年9月にHKイノエン社に導出したテゴプラザンについては、同社が日本における権利を有している。当初は第Ⅰ相臨床試験にあたる臨床薬理試験を2023年12月期に終了し、2024年12月期以降に導出を計画していた。しかし、導出候補先からのアプローチを受けて、最速の上市を目指し、臨床薬理試験を行わずに2023年12月期中に導出する計画に変更した。2023年12月期から候補先との交渉を開始し、2023年末までの締結を見込んでいたが、以下の3点について交渉が長期化した。

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

1）については、提携先のHKイノエン社やBraintree社からデータを入手するなど、海外臨床情報を活用することとした。これに伴い、海外の臨床試験データを活用するための一時金が、2024年12月期に計上されることとなる。2）については、提携によって行う予定である。同社によれば、1）と2）の課題は、2023年の早い段階で解決した。3）については、今後も継続すると予想される薬価引き下げに備えて、価格弾力性を持たせる必要があるとして、ライセンス対価や供給コストなどの諸条件について、導出候補先との交渉が長期化している。引き続き、提携先候補との協議中であり、同社は2024年12月期中の契約締結を目指している。

#### 韓国やアメリカのデータを活用

同社はテゴプラザンの価値の最大化を企図して、日本において韓国データを活用した迅速かつ効率的な開発・承認取得のため、臨床薬理試験の準備中に医学専門家の助言を受けて試験プロトコルを検討、治験相談に向けてPMDAとの交渉を開始していた。テゴプラザンは韓国において、びらん性・非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、ピロリ除菌補助療法などで承認されているが、日本国内の承認申請に韓国のデータを活用するには、日本人と韓国人の民族差を評価する必要があると同社は考えている。前述の通り、海外臨床情報を活用することとなり、データ活用のための一時金が2024年12月期に計上される予定である。

# 5-HT4作動薬（RQ-00000010）

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

# グレリン受容体作動薬（RQ-00433412）

がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘を主適応症として開発中で、同社が創業後に新たに創製した化合物である。前臨床試験用の原薬製造を完了し、2021年12月期第4四半期（2021年10月～12月）から外部委託による前臨床試験を実施中である。同社は2023年12月期末までに前臨床試験を終了して2024年に全世界の権利を導出する計画で候補先を模索していたが、前臨床試験が長引いており、2025年に臨床試験を実施する予定である。

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。

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

## IRAK-M分解誘導薬（FIM-001）

ファイメクス社により創出された標的タンパク質分解誘導剤であり、IRAK-Mの分解による免疫抑制機構の解除を機序としたがん免疫療法で、免疫チェックポイント阻害剤とは異なるメカニズムにより、全身性の免疫抑制機構を解除する。そのため、免疫チェックポイント阻害剤への耐性を克服する可能性がある、と同社はみている。想定される主な適応がん種は、非小細胞肺がんと膵臓がんで、前臨床試験を実施中である。

# 探索研究段階のパイプライン

2024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6本については企業やアカデミアとの共同研究を行っている。

| | 共同研究相手 | 対象疾患 | 標的分子 | 備考 | 2023年期初 | 2024年期初 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 企業 | あすか製薬社 | 非開示 | イオンチャネル | | ○ | 終了 |
| | ソシウム社 | 希少疾患 | 非開示 | AIの創薬応用 | ○ | ○ |
| | STAND社 | 希少疾患 | イオンチャネル | 新規モダリティ | ○ | 終了 |
| | STAND社 | 希少疾患 | 非開示 | 新規モダリティ | | ○ |
| | DWTI社 | 眼疾患 | イオンチャネル | | ○ | ○ |
| | VIS社 | がん疾患 | 非開示 | 新規モダリティ | ○ | ○ |
| | leadXpro社 | 非開示 | イオンチャネル | 構造生物学 | | ○ |
| アカデミア | 岐阜薬科大学 | 眼疾患 | 非開示 | | ○ | ○ |
| 自社単独 | | 非開示 | イオンチャネル | | ○ | ○ |
| | | 非開示 | イオンチャネル | | ○ | ○ |
| | | 非開示 | イオンチャネル | | | ○ |

出所：会社資料よりSR社作成

### 特定のイオンチャネルを標的とした創薬研究

主適応症は非開示。同社は2019年7月から、特定のイオンチャネルを標的とした新薬の創出を目指した共同研究をあすか製薬株式会社（非上場、あすか製薬ホールディングス株式会社（東証PRM 4886）傘下）と行ってきた。2023年6月、共同研究の成果を用いた発展的な共同研究の実施について協議を重ねた結果、共同研究契約を終了することに双方で合意した。契約終了に伴い、共同研究の成果については同社に帰属し、今後は単独で新薬の創出を目指した研究開発を進めることになった。

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

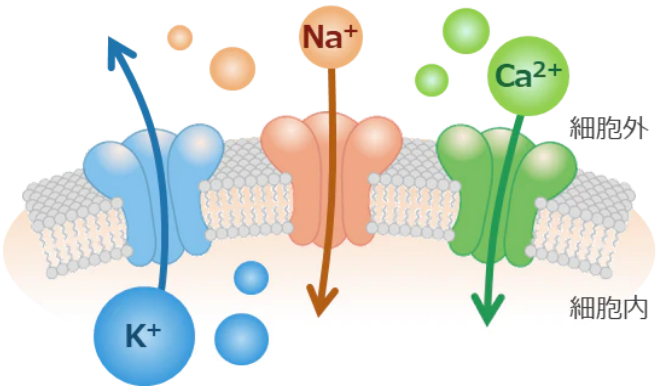
# イオンチャネル創薬

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10%未満にすぎず、同分野で5つのライセンスを導出している企業は世界でも同社以外にはない。

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

## イオンチャネルの仕組み




出所：会社資料

## イオンチャネルが関与するさまざまな生理現象

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

出所：会社資料よりSR社作成

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

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

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

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

## 同社が創製した開発候補化合物とライセンス契約先

| プログラム | 化合物コード | 主な適応症 | 導出先 | 開発段階 |
|---|---|---|---|---|
| P2X7受容体拮抗薬 | RQ-00466479/AK1780 | ー | 旭化成ファーマ社 | 2013年共同研究<br>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<br>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<br>非開示 |
| TRPM8遮断薬 | RQ-00434739 | 慢性疼痛 | Xgene社 | 2021年導出<br>香港Xgene社がP1実施中 |
| 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<br>前臨床試験実施中 |

出所：会社資料よりSR社作成（2024年8月現在）

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

## 神経疾患への疾患領域の拡大

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

# 市場とバリューチェーン

## 世界の医薬品市場

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

### 世界の医薬品市場規模

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

出所：製薬協DATABOOK2023（データ元：IQVIA）よりSR社作成
*年平均成長率は2021年までの5年間

### 主な標的疾患の潜在市場規模

| 疾患名 | 患者数 | 市場規模 | 地域 | 既存薬 | 同社開発パイプライン |
|---|---|---|---|---|---|
| 胃食道逆流症 | 58百万人（米国）<br>17百万人（日本） | 2兆円<br>4,500億円<br>2,500億円 | （全世界）<br>（米国）<br>（日本） | H2RA<br>PPI<br>ボノプラザン | テゴプラザン |
| 疼痛 | 50百万人（米国）<br>23百万人（日本） | 2兆4000億円<br>3,000億円 | （全世界）<br>（日本） | プレガバリン<br>デュロキセチン<br>セレコキシブ　ほか | $EP_4$拮抗薬、COX-2阻害薬、<br>TRPM8遮断薬、P2X7受容体拮抗薬、<br>ナトリウムチャネル遮断薬 |
| がん免疫 | がん患者の約12%ががん免疫療法に応答 | 10兆円 | （全世界） | ニボルマブ<br>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<br>600億円 | （全世界）<br>（日本） | リナクロチド<br>ルビプロストン　ほか | 5-$HT_4$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-$HT_4$作動薬<br>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<br>ラモセトロン　ほか | 5-$HT_{2B}$拮抗薬 |
| がん悪液質 | がん患者の20%以上が悪液質を発症 | 2,000億円 | （全世界） | アナモレリン | グレリン受容体作動薬 |
| 腎臓損傷に伴う便秘 | 300百万人 | 200億円以上 | （全世界） | 便秘薬 | グレリン受容体作動薬 |
| 骨髄異形成症候群 | 6～17万人（米国）<br>毎年2万人が発症（米国・欧州） | 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）<br>毎年2.5万人が発症（米国・欧州）<br>7千人（日本） | 1兆円 | （全世界） | アザシチジン<br>ベネトクラクス　ほか | タミバロテン |

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、2023年の国内医療用医薬品の売上高は11.3兆円（前年比3.1%増）となり、9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278,425百万円（同16.1%減）と減少したものの、武田薬品工業社の抗潰瘍薬「タケキャブ®」は115,556百万円（同3.3%増）で、製品別売上高第5位であった。

## 国内医療用医薬品市場推移

| (百万円) | 2000 | 2001 | 2002 | 2003 | 2004 | 2005 | 2006 | 2007 | 2008 | 2009 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 国内医療用医薬品 | 6,455,972 | 6,698,087 | 6,775,152 | 7,056,186 | 7,203,310 | 7,745,509 | 7,696,972 | 8,047,859 | 8,254,290 | 8,851,647 |
| 前年比 | 0.0% | 3.8% | 1.2% | 4.1% | 2.1% | 7.5% | -0.6% | 4.6% | 2.6% | 7.2% |
| 制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤 | 391,242 | 400,632 | 383,713 | 392,301 | 395,660 | 418,112 | 408,593 | 422,148 | 427,027 | 446,651 |
| 前年比 | -1.0% | 2.4% | -4.2% | 2.2% | 0.9% | 5.7% | -2.3% | 3.3% | 1.2% | 4.6% |
| | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 |
| 国内医療用医薬品 | 8,873,623 | 9,481,578 | 9,547,314 | 9,846,641 | 9,983,426 | 10,597,934 | 10,623,980 | 10,514,878 | 10,337,471 | 10,625,631 |
| 前年比 | 0.2% | 6.9% | 0.7% | 3.1% | 1.4% | 6.2% | 0.2% | -1.0% | -1.7% | 2.8% |
| 制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤 | 429,890 | 434,997 | 408,604 | 418,289 | 397,394 | 389,788 | 376,365 | 377,550 | 349,783 | 351,329 |
| 前年比 | -3.8% | 1.2% | -6.1% | 2.4% | -5.0% | -1.9% | -3.4% | 0.3% | -7.4% | 0.4% |
| | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 | | | | | | |
| 国内医療用医薬品 | 10,371,733 | 10,599,031 | 10,939,481 | 11,280,631 | | | | | | |
| 前年比 | -2.4% | 2.2% | 3.2% | 3.1% | | | | | | |
| 制酸剤、鼓腸および潰瘍治療剤 | 347,142 | 351,640 | 331,675 | 278,425 | | | | | | |
| 前年比 | -1.2% | 1.3% | -5.7% | -16.1% | | | | | | |

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

# 日本における薬価改定の影響

ヒト向けの医療用医薬品の価格である「薬価」は、厚生労働省によって日本全国一律に定められている。新しく開発されて上市される医療用医薬品の価格は、すでに使用されて効き目が似ている薬剤の価格と比較して決められる（類似薬効比較方式）。比較してより高い有効性や新規性が認められれば補正加算され、価格が上乗せされる。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ると考えられ、段階的に引き下げられる仕組みである。2024年4月の薬価改定までの過去5回では、医療費ベースで平均1.18%、薬剤費ベースで平均5.51%の引き下げが行われた。

日本における薬価改定の仕組みがあることで、巨額の投資と長い開発期間を経て上市した医薬品から、製薬企業が計画通りの利益を得ることが難しい状況となっている。2022年4月に行われた薬価改定は、医療費ベースでマイナス1.35%の改定率、薬剤費ベースでは6.69%の引き下げとなった。これにより2022年度の国内医薬品市場規模に対して、約600,000百万円以上の縮小要因となったとされている。

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

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

## 薬価改定率と平均乖離率の推移

| | 1994 | 1996 | 1998 | 2000 | 2002 | 2004 | 2006 | 2008 | 2010 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 改定率（薬剤費ベース） | -6.6% | -4.4% | -9.7% | -7.0% | -6.3% | -4.2% | -6.7% | -5.2% | -5.75% |
| 改定率（医療費ベース） | -2.0% | -1.3% | -2.7% | -1.6% | -1.3% | -0.9% | -1.6% | -1.1% | -1.23% |
| 平均乖離率 | 17.8% | 13.1% | 9.5% | 7.1% | 6.3% | 8.0% | 6.9% | 8.4% | 8.4% |
| | 2012 | 2014 | 2016 | 2018 | 2019 | 2020 | 2022 | 2024 | |
| 改定率（薬剤費ベース） | -6.00% | -5.64% | -5.57% | -7.48% | -4.35% | -4.38% | -6.69% | -4.67% | |
| 改定率（医療費ベース） | -1.26% | -1.22% | -1.22% | -1.65% | -0.93% | -0.99% | -1.35% | -0.97% | |
| 平均乖離率 | 8.2% | 8.8% | 9.1% | 7.2% | 8.0% | 8.0% | 7.0% | | |

出所：厚生労働省「薬価改定の推移」よりSR社作成
* 2023年における薬価と市場実勢価格との平均乖離率は、約6.0%であった

# 世界のペット用医薬品市場規模

Global Market Insights Research Inc.（非上場）によれば、2022年における世界のペット用医薬品市場規模は約13.1十億米ドル（約1.7兆円、1米ドル130.0円換算）で、2032年までの年平均成長率は約6.8%と予測されている。新興国などの経済成長や中間所得層の拡大により、ペットの頭数は増加しており、ペット用医薬品市場は成長が続いている。ペット用医薬品の市場規模はヒト向けの医薬品より小さいものの、国内外において「薬価」が存在しないため、価格の維持あるいは値上げが可能である。

## 犬とネコの飼育頭数（単位：1,000匹）

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

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

# 創薬モダリティの変遷

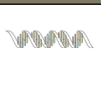
従来、製薬業界では低分子化合物による創薬が大半を占めていたが、1990年代から抗体、酵素、ホルモンなどを応用してバイオテクノロジーによって作られた「バイオ医薬品」が承認されるようになった。現在では中分子医薬、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬、再生医療など、モダリティが多様化している。

## 低分子医薬品とバイオ医薬品の違い

低分子医薬品は分子量500以下と小さく、安定した化学構造であり、化学合成によって製造される。製造費や開発費は比較的低く、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、撹拌速度、細胞密度などのわずかな変化によって品質が変わってしまうことがあり、製法の確立には高い技術とコストが必要となる。化学合成の低分子医薬品では約50種類の工程内管理試験が行われるのに対し、バイオ医薬品では約250種類の工程内試験が行われる。バイオ医薬品は培養方法が未確立であったり、確立済みの場合にも海外企業が特許を取得している場合が多く、専門人材も国内には不足している。量産化に向けて製品の安全性および有効性を常に維持するため、高い精度の品質管理基準（GMP）と定められた規格への適合が規制当局から求められている。

## 低分子医薬品・中分子医薬品・バイオ医薬品の特徴

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

出所：会社資料

## 米国FDAの承認件数

| | 1994 | 1995 | 1996 | 1997 | 1998 | 1999 | 2000 | 2001 | 2002 | 2003 | 2004 | 2005 | 2006 | 2007 | 2008 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 新規有効成分含有医薬品（NMEs） | 19 | 28 | 47 | 34 | 25 | 33 | 25 | 19 | 11 | 15 | 31 | 18 | 18 | 16 | 21 |
| 構成比 | 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% | 87.5% |
| 生物学的製剤（BLAs） | 2 | 1 | 6 | 5 | 5 | 2 | 2 | 5 | 6 | 6 | 5 | 2 | 4 | 2 | 3 |
| 構成比 | 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% | 12.5% |
| | 2009 | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 |
| 新規有効成分含有医薬品（NMEs） | 20 | 15 | 24 | 33 | 25 | 30 | 33 | 15 | 34 | 42 | 38 | 40 | 36 | 22 | 34 |
| 構成比 | 76.9% | 71.4% | 80.0% | 84.6% | 92.6% | 73.2% | 73.3% | 68.2% | 73.9% | 71.2% | 79.2% | 75.5% | 72.0% | 59.5% | 61.8% |
| 生物学的製剤（BLAs） | 6 | 6 | 6 | 6 | 2 | 11 | 12 | 7 | 12 | 17 | 10 | 13 | 14 | 15 | 21 |
| 構成比 | 23.1% | 28.6% | 20.0% | 15.4% | 7.4% | 26.8% | 26.7% | 31.8% | 26.1% | 28.8% | 20.8% | 24.5% | 28.0% | 40.5% | 38.2% |

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る。2023年における米国FDAの承認件数に占める低分子医薬品の割合は、2022年より増加し、構成比は61.8%と低分子医薬品の方が多い。

# 競合他社動向

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

## バイオベンチャーのビジネスモデル分類

| ビジネスモデル | | 日本企業の例 |
|---|---|---|
| 創薬基盤技術型 （プラットフォーム型） | 創薬シーズを創出する技術を持ち、生み出したシーズを他社に導出 | ペプチドリーム<br>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、自社販売まで一気通貫で実施 | ナノキャリア<br>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 | そーせいグループ<br>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のあり方」）、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 | 営業利益率 | ROE | |
| | | （百万円） | （%） | （%） | |
| 4579 | ラクオリア創薬 | 1,901 | -17.7% | -5.6% | 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 | 26,011 | 50.4% | 29.6% | 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 | そーせいグループ | 12,766 | -74.6% | -11.5% | 膜タンパクGPCR標的創薬を行うベンチャー企業。元ジェネンテック社長の田村眞一氏が創設。買収した英ヘプタレス社が事業の柱 |
| 4571 | ナノキャリア | 202 | -616.3% | -27.0% | がん領域に特化した創薬ベンチャー。超微細な「ミセル化ナノ粒子」で副作用の少ない新薬を目指す |
| 4572 | カルナバイオサイエンス | 1,626 | -68.7% | -30.7% | 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 | 5,590 | -14.5% | -26.1% | 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 | 28,712 | 23.6% | 8.4% | 独自の創薬プラットフォームシステムPDPSを活用し、特殊ペプチドによる医薬品候補を大手製薬と創製、技術供与を行う。海外製薬大手との提携多数。買収で放射性医薬品に参入 |
| 4597 | ソレイジア・ファーマ | 617 | -184.6% | -49.0% | がん領域が主。候補物質の開発権導入による臨床開発が主体の創薬ベンチャー。導入した候補品を開発後に権利再導出、製品販売を行う。ファブレスで海外企業に製造委託 |
| 4883 | モダリス | 0 | - | -111.9% | 切断しない独自のゲノム編集技術を用いた創薬により、希少疾患に属する遺伝子疾患の治療薬を創製するベンチャー企業。米国に研究拠点を有する |

出所：各社資料よりSR社作成

| （百万円） | ラクオリア創薬（4579） | | | GNIグループ（2160） | | | そーせいグループ（4565） | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
| | 連結 | 連結 | 連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 |
| 売上高 | 2,776 | 2,918 | 1,901 | 12,690 | 17,419 | 26,011 | 17,712 | 15,569 | 12,766 |
| 売上総利益 | 2,456 | 2,686 | 1,670 | 11,090 | 14,745 | 22,431 | 16,779 | 14,643 | 9,664 |
| 研究開発費 | 1,127 | 1,249 | 1,373 | 2,016 | 2,545 | 2,558 | 5,931 | 7,454 | 10,075 |
| 販管費 | 620 | 572 | 621 | 7,959 | 10,966 | 15,293 | 3,940 | 4,377 | 9,965 |
| 営業利益 | 708 | 866 | -337 | 1,625 | 1,378 | 13,109 | 3,775 | 3,436 | -9,526 |
| 経常利益 | 864 | 904 | -293 | 1,107 | 768 | 12,613 | 433 | 645 | -10,680 |
| 当期純利益 | 756 | 723 | -324 | 55 | -868 | 9,504 | 1,017 | 382 | -7,193 |
| 株主資本利益率 | 17.2% | 14.1% | -5.6% | 2.3% | 2.0% | 29.6% | 1.9% | 0.7% | -11.5% |
| 総資産経常利益率 | 18.2% | 15.7% | -4.5% | 4.1% | 2.4% | 26.2% | 0.5% | 1.1% | -8.3% |
| 営業利益率 | 25.5% | 29.7% | -17.7% | 12.8% | 7.9% | 50.4% | 21.3% | 22.1% | -74.6% |
| 総資産 | 5,234 | 6,258 | 6,872 | 30,297 | 33,907 | 63,394 | 96,985 | 99,417 | 157,198 |
| 純資産 | 4,788 | 5,497 | 6,120 | 19,266 | 19,811 | 36,053 | 57,468 | 57,936 | 66,810 |
| 株主資本比率 | 91.3% | 87.7% | 88.7% | 62.3% | 61.8% | 54.2% | 59.3% | 58.3% | 42.5% |
| 営業CF | 366 | 1,480 | -719 | 552 | 393 | 6,549 | 7,095 | 9,952 | -5,273 |
| 投資CF | -279 | -48 | -135 | -261 | -4,116 | -9,843 | 278 | 1,043 | -63,791 |
| 財務CF | -16 | -30 | 793 | 2,853 | -646 | 10,687 | 11,123 | -4,887 | 48,329 |
| 現預金 | 2,345 | 3,675 | 3,715 | 14,352 | 11,049 | 21,633 | 60,087 | 66,557 | 49,065 |
| 有利子負債 | 39 | 222 | 368 | 1,126 | 537 | 3,699 | 1,831 | 1,753 | 73,973 |
| ネットデット | -2,306 | -3,453 | -3,347 | -13,226 | -10,512 | -17,934 | -58,256 | -64,804 | 24,908 |
| | 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） | | |

| | 21年3月期 | 22年3月期 | 23年3月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 |
| 売上高 | 313 | 264 | 202 | 2,018 | 1,387 | 1,626 | 8,257 | 10,008 | 5,590 |
| 売上総利益 | 275 | 223 | 160 | 1,882 | 1,215 | 1,451 | 5,800 | 7,600 | 4,411 |
| 研究開発費 | 1,173 | 1,530 | 1,120 | 1,841 | 1,882 | 1,903 | 1,736 | 2,555 | 2,638 |
| 販管費 | 405 | 503 | 1,406 | 2,413 | 2,485 | 2,568 | 4,784 | 5,636 | 5,223 |
| 営業利益 | -1,303 | -2,061 | -1,246 | -531 | -1,270 | -1,117 | 1,016 | 1,964 | -812 |
| 経常利益 | -1,279 | -1,925 | -1,105 | -523 | -1,279 | -1,126 | 1,001 | 2,000 | -736 |
| 当期純利益 | -2,836 | -1,882 | -1,311 | -534 | -1,350 | -1,153 | 2,032 | 1,179 | -1,963 |
| 株主資本利益率 | -35.2% | -29.1% | -27.0% | -10.2% | -34.0% | -30.7% | 39.6% | 14.6% | -26.1% |
| 総資産経常利益率 | -15.3% | -25.7% | -17.0% | -13.2% | -26.4% | -26.1% | 13.6% | 19.2% | -7.9% |
| 営業利益率 | -415.9% | -780.6% | -616.3% | -26.3% | -91.6% | -68.7% | 12.3% | 19.6% | -14.5% |
| 総資産 | 7,821 | 7,136 | 5,784 | 5,433 | 4,266 | 4,350 | 8,453 | 10,433 | 8,170 |
| 純資産 | 7,500 | 5,567 | 4,253 | 4,316 | 3,642 | 3,878 | 6,746 | 8,506 | 7,210 |
| 株主資本比率 | 94.8% | 77.6% | 73.5% | 79.3% | 85.0% | 89.1% | 79.8% | 77.6% | 84.9% |
| 営業CF | -1,247 | -1,753 | -1,087 | -1,537 | -708 | -1,677 | 140 | 1,614 | -195 |
| 投資CF | -872 | -244 | 1,208 | -42 | -126 | -11 | -71 | -47 | -377 |
| 財務CF | -11 | 1,146 | 0 | 1,065 | 367 | 1,182 | -72 | 628 | 680 |
| 現預金 | 3,892 | 3,545 | 2,812 | 3,818 | 3,379 | 2,889 | 3,860 | 6,283 | 6,517 |
| 有利子負債 | 0 | 1,150 | 0 | 540 | 300 | 183 | 0 | 0 | 0 |
| ネットデット | -3,892 | -2,395 | -2,812 | -3,278 | -3,079 | -2,706 | -3,860 | -6,283 | -6,517 |

| | ペプチドリーム（4587） | | | ソレイジア・ファーマ（4597） | | | モダリス（4883） | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
| | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | IFRS連結 | 連結 | 連結 | 連結 |
| 売上高 | 9,422 | 26,852 | 28,712 | 559 | 1,092 | 617 | 1 | 41 | 0 |
| 売上総利益 | 7,029 | 18,113 | 17,218 | 373 | 662 | 337 | - | - | - |
| 研究開発費 | 1,654 | 2,915 | 3,155 | 845 | 883 | 403 | 1,010 | 1,862 | 2,103 |
| 販管費 | 1,355 | 6,218 | 7,256 | 1,948 | 2,250 | 1,073 | 231 | 242 | 268 |
| 営業利益 | 4,066 | 8,980 | 6,773 | -2,419 | -2,470 | -1,139 | -1,239 | -2,063 | -2,371 |
| 経常利益 | 3,804 | 6,653 | 4,353 | -2,442 | -2,492 | -1,135 | -1,231 | -1,996 | -2,352 |
| 当期純利益 | 2,573 | 7,554 | 3,036 | -2,478 | -2,548 | -1,112 | -739 | -2,703 | -2,392 |
| 株主資本利益率 | 11.0% | 26.3% | 8.4% | -79.4% | -97.1% | -49.0% | -12.6% | -63.8% | -111.9% |
| 総資産経常利益率 | 14.3% | 14.6% | 6.5% | -54.8% | -79.4% | -42.3% | -16.6% | -43.4% | -91.2% |
| 営業利益率 | 43.2% | 33.4% | 23.6% | -432.7% | -226.1% | -184.6% | -112676.7% | -5094.3% | - |
| 総資産 | 27,035 | 63,865 | 69,464 | 3,144 | 3,134 | 2,229 | 6,069 | 3,130 | 2,026 |
| 純資産 | 25,350 | 32,041 | 40,350 | 2,587 | 2,662 | 1,875 | 5,549 | 2,941 | 1,380 |
| 株主資本比率 | 93.8% | 50.2% | 58.1% | 82.3% | 84.9% | 84.1% | 91.4% | 93.4% | 66.8% |
| 営業CF | 6,655 | -83 | 12,421 | -2,473 | -2,074 | -359 | -747 | -1,896 | -2,254 |
| 投資CF | -2,283 | -27,377 | 1,303 | -164 | -418 | 0 | 172 | -186 | -40 |
| 財務CF | 66 | 20,789 | 264 | 361 | 2,571 | 275 | 73 | 64 | 1,216 |
| 現預金 | 11,747 | 5,248 | 19,508 | 714 | 803 | 728 | 4,936 | 2,933 | 1,883 |
| 有利子負債 | 0 | 21,048 | 22,221 | 84 | 37 | 33 | 0 | 0 | 0 |
| ネットデット | -11,747 | 15,801 | 2,713 | -630 | -766 | -695 | -4,936 | -2,933 | -1,883 |

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。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、イオンチャネルをターゲットとした医薬品は、医療用医薬品全体の10%未満にすぎない。同社によれば、参入する企業が少ないニッチな領域となるため、同分野で5つのライセンスを導出している企業は、世界でも同社以外にはない。

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

### 「特許」を数百件保有すること

同社は継続的に基本特許（物質特許）を出願して世界の主要国において権利化を行っており、地域や有効期限はそれぞれ違うものの、最長で2040年代近くまでの数百の特許（周辺特許を含む）を保有する。基本特許の出願後は特許の延長や周辺特許の出願により、創製した化合物のライフサイクルの延長を図っている。物質特許の有効期間は20年で

あるが、特許期間延長により最長5年、用途特許や製法特許など周辺特許の出願によりさらに20年の独占排他権の維持が可能となる。もとはファイザー社が出願した特許についても、特許期間の延長と周辺特許の出願によって2030年代半ばまでは特許期間が継続している。

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

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

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

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

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

## 弱み（Weaknesses）

### 創薬モダリティ（創薬手法）が低分子に偏っていること

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

同社は上市品4品目、イオンチャネルを含む導出済プロジェクト10本、導出準備パイプライン6本の豊富な開発パイプラインを有しているが、そのすべてが低分子医薬である。新規医薬品は3万分の1の確率でしか上市できないと言われるが、低分子医薬は1つの開発候補化合物を創るのに72カ月程度かかるため、時間とコストがかかる割には市場規模はバイオ医薬品に比べて小さい。バイオ医薬品は、低分子では難しかった標的へのアプローチが可能になったというメリットはあるものの、経口薬を作れないなどのデメリットもあり、2023年における米国FDAの承認件数に占める低分子医薬の割合は61.8%と、依然としてバイオ医薬品よりも多い。

同社は2024年12月期までの中期経営計画で、次世代の成長のため新規モダリティのコンセプト検証を行っており、今後も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ン収入、販売ロイヤルティの料率が低くなる傾向がある。そのため新経営陣は、研究開発中の新薬候補物質の有効性・効果を動物もしくはヒトに投与することによって確認されるPOC（Proof of Concept）までを自社で行い、将来的なパイプラインの価値の向上を図ることにシフトした。POCを確保するには一般的に20～50億円の投資が必要となる第Ⅱ相臨床試験まで行う必要があり、従来と比べて多額の資金需要が生じるが、導出先からの入金のタイミングと合わなければ、資金調達が必要となる。

## 研究者の専門性による採用や育成の難しさがあること

同社は製薬会社で研究開発の経験を積んだ研究者を中心に採用を進めており、2022年12月期以降は博士人材の採用を進めて世界のトップ企業と肩を並べられるような体制を作る方針である。しかし、生物薬理研究者は専門性が高く、疾患領域が分かれているため、従来の疼痛・消化器から神経疾患に領域を広げることで、専門的に神経疾患の研究を行ってきた人材の確保が必要となる。

文部科学省によると、大学院博士課程（標準5年間）の入学者数は、2003年をピークに減少傾向が続いた。2015年を底に微増傾向となり、2018年は15千人（前年比0.9%増）で、そのうち6千人が保健（医学、歯学、薬学および保健学）専攻であった。2021年も15千人でほぼ横ばいに推移しているが、全体的には減少傾向にある。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。各国の最新年度において、博士号取得者数が最も多いのは米国（92千人）であり、中国（66千人）、ドイツ（26千人）と続く。2000年と比較すると、韓国、中国、米国では倍増している。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が、同社の将来の成長を左右する、とSR社では考える。

# 過去の業績と財務諸表

## 損益計算書

| 損益計算書 | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 | 連結 |
| **事業収益** | **154** | **146** | **705** | **1,419** | **745** | **1,703** | **1,107** | **2,776** | **2,918** | **1,901** |
| 前年比 | -32.5% | -5.5% | 384.7% | 101.2% | -47.5% | 128.7% | -35.0% | 150.7% | 5.1% | -34.8% |
| **事業費用** | **2,276** | **2,010** | **1,465** | **1,570** | **1,820** | **1,719** | **1,593** | **2,068** | **2,052** | **2,239** |
| 前年比 | -3.8% | -11.7% | -27.1% | 7.1% | 15.9% | -5.5% | -7.3% | 29.8% | -0.8% | 9.1% |
| 売上原価 | 3 | - | 118 | 150 | 89 | 263 | 138 | 321 | 232 | 245 |
| 前年比 | 731.3% | - | - | 27.1% | -40.2% | 193.9% | -47.5% | 132.4% | -27.8% | 5.8% |
| 研究開発費 | 1,480 | 1,302 | 796 | 849 | 1,075 | 864 | 932 | 1,127 | 1,249 | 1,373 |
| 前年比 | -2.5% | -12.0% | -38.9% | 6.6% | 26.6% | -19.6% | 7.9% | 20.9% | 10.8% | 9.9% |
| 研究開発費比率 | 961.7% | 895.2% | 112.9% | 59.8% | 144.3% | 50.7% | 84.2% | 40.6% | 42.8% | 72.2% |
| 販売費及び一般管理費 | 794 | 708 | 551 | 572 | 656 | 592 | 523 | 620 | 572 | 621 |
| 前年比 | -6.3% | -10.9% | -22.1% | 3.7% | 14.7% | -9.7% | -11.6% | 18.6% | -7.9% | 8.6% |
| 販管費比率 | 515.9% | 486.4% | 78.2% | 40.3% | 88.1% | 34.8% | 47.2% | 22.3% | 19.6% | 32.7% |
| **営業利益** | **-2,123** | **-1,865** | **-760** | **-150** | **-1,075** | **-16** | **-486** | **708** | **866** | **-337** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | 22.4% | - |
| 営業利益率 | - | - | - | - | - | - | - | 25.5% | 29.7% | - |
| 営業外収益 | 187 | 99 | 94 | 85 | 45 | 49 | 35 | 177 | 77 | 88 |
| 受取利息 | 3 | 4 | 13 | 4 | 9 | 9 | 4 | 2 | 1 | 3 |
| 有価証券利息 | 31 | 78 | 52 | 35 | 32 | 35 | 28 | 21 | 13 | 7 |
| 為替差益 | 27 | 14 | | 1 | | | - | 146 | 44 | 52 |
| 複合金融商品評価益 | 20 | | 8 | | | 4 | 1 | 0 | | |
| 有価証券売却益 | | 1 | | | | | | | | |
| 補助金収入 | | | 20 | 44 | 1 | 0 | 2 | 6 | | |
| 受取配当金 | | 0 | | | | | | | | |
| 投資損失引当金戻入額 | | | | | | | | | | |
| その他 | 6 | 1 | 2 | 1 | 3 | 1 | 1 | 3 | 6 | |
| 営業外費用 | 7 | 29 | 55 | 85 | 35 | 12 | 76 | 21 | 39 | 44 |
| 支払利息 | | | | | | | 0 | 1 | 6 | 7 |
| コミットメントフィー | | | | | | | | | 6 | 9 |
| 為替差損 | | | 55 | | 33 | 0 | 76 | - | | |
| 株式交付費 | 7 | 6 | | 13 | 1 | 12 | 0 | 0 | 16 | 4 |
| デリバティブ評価損 | | | | | | | - | 10 | - | 25 |
| 和解金 | | | | | | | - | 10 | | |
| 複合金融商品評価損 | | 21 | | 2 | 1 | | | | 11 | |
| 有価証券償還損 | | 2 | | | | | | | | |
| その他 | - | - | - | 0 | - | - | - | - | - | - |
| **経常利益** | **-1,942** | **-1,795** | **-721** | **-81** | **-1,065** | **22** | **-528** | **864** | **904** | **-293** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | 4.7% | - |
| 経常利益率 | - | - | - | - | - | 1.3% | - | 31.1% | 31.0% | - |
| 特別利益 | 1,549 | 66 | | 21 | 5 | 6 | 9 | 17 | 14 | - |
| 固定資産売却益 | 6 | | | | | | 1 | - | | |
| 投資有価証券売却益 | 1,544 | 66 | | 18 | 5 | 6 | 8 | 14 | 10 | |
| 投資有価証券償還益 | | | | | | | | 2 | 4 | |
| 特別損失 | 65 | 119 | 2 | 0 | 18 | | 9 | | 68 | 1 |
| 減損損失 | | | | | | | 3 | | | |
| 投資有価証券売却損 | | | | 0 | | | 0 | | | |
| 投資有価証券償還損 | | 6 | 2 | | | | 7 | | 50 | - |
| 役員退職慰労金 | | | | | | | | | 18 | - |
| 特別退職金 | 10 | 69 | | | | | | | | |
| 事務所移転費用 | 54 | 43 | | | | | | | | |
| 賃貸借契約解約損 | | | | | | | | | | |
| その他 | - | - | - | - | - | - | - | - | - | - |
| 法人税等 | 7 | 6 | 5 | -2 | 26 | 22 | 79 | 125 | 128 | 30 |
| 税率 | -1.5% | -0.3% | -0.7% | 2.9% | -2.4% | 80.4% | -15.0% | 14.2% | 15.0% | -10.1% |
| **親会社株主に帰属する当期純利益** | **-465** | **-1,854** | **-728** | **-58** | **-1,105** | **5** | **-607** | **756** | **723** | **-324** |
| 前年比 | - | - | - | - | - | - | - | - | -4.3% | - |
| 純利益率 | - | - | - | - | - | 0.3% | - | 27.2% | 24.8% | - |

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

同社は2008年6月に米国ファイザー社から、探索段階および開発段階の複数のプロジェクトに関して知的財産権を譲受した。同社が譲受した化合物の権利を他社に導出する場合、同社はファイザー社に対して導出によって得られる収益（契約一時金収入、マイルスト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 | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 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 | 1,891 | 1,840 | 1,428 | 2,268 | 1,671 | 2,174 | 1,394 | 2,345 | 3,675 | 3,715 |
| 受取手形及び売掛金 | 20 | 73 | 58 | 449 | 1 | 747 | 531 | 1,205 | 602 | 603 |
| 有価証券 | 1,184 | 503 | 9 | 329 | 168 | 26 | 719 | 314 | 251 | 50 |

| | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| たな卸資産 | 9 | 7 | 7 | 5 | 6 | 6 | 7 | 11 | 9 | 148 |
| 前渡金 | 58 | 179 | 205 | 190 | 9 | 6 | 36 | 16 | 90 | 67 |
| 前払費用 | 55 | 65 | 56 | 62 | 72 | 69 | 50 | 90 | 109 | 188 |
| その他 | 43 | 40 | 43 | 20 | 35 | 39 | 97 | 22 | 87 | 186 |
| **流動資産合計** | **3,261** | **2,708** | **1,806** | **3,322** | **1,962** | **3,067** | **2,834** | **4,004** | **4,822** | **4,957** |
| 建物及び構築物 | 80 | 140 | 141 | 142 | 143 | 143 | 153 | 154 | 154 | 158 |
| 工具、器具及び備品 | 349 | 394 | 452 | 488 | 677 | 742 | 872 | 944 | 964 | 1,125 |
| リース資産 | | | | | 3 | 3 | 49 | 60 | 255 | 398 |
| 減価償却累計額 | -363 | -273 | -344 | -415 | -505 | -639 | -741 | -859 | -982 | -1,107 |
| 機械装置及び運搬具 | 2 | | | | | | | | | |
| **有形固定資産合計** | **85** | **261** | **249** | **216** | **318** | **249** | **333** | **299** | **391** | **574** |
| 商標権 | 3 | 2 | 6 | 5 | 5 | 5 | 4 | 4 | 4 | 5 |
| ソフトウェア | 6 | 8 | 7 | 4 | 28 | 27 | 28 | 29 | 20 | 26 |
| その他 | 3 | 4 | 0 | - | 1 | 1 | 1 | 1 | 0 | 0 |
| **無形固定資産合計** | **12** | **14** | **13** | **10** | **34** | **32** | **33** | **34** | **24** | **30** |
| 投資有価証券 | 1,800 | 1,752 | 1,937 | 1,503 | 1,717 | 1,474 | 1,038 | 888 | 988 | 1,231 |
| 長期前払費用 | 4 | 5 | 3 | 2 | 10 | 2 | 0 | 0 | 24 | 64 |
| 繰延税金資産 | | | | | | | 3 | - | | 6 |
| その他 | 39 | 12 | 11 | 11 | 12 | 12 | 10 | 9 | 8 | 11 |
| **投資その他の資産合計** | **1,844** | **1,769** | **1,951** | **1,516** | **1,738** | **1,488** | **1,051** | **897** | **1,020** | **1,311** |
| **固定資産合計** | **1,941** | **2,044** | **2,213** | **1,742** | **2,090** | **1,769** | **1,417** | **1,230** | **1,436** | **1,915** |
| **資産合計** | **5,202** | **4,752** | **4,019** | **5,064** | **4,052** | **4,837** | **4,251** | **5,234** | **6,258** | **6,872** |
| **負債** | | | | | | | | | | |
| 支払手形及び買掛金 | | | | 2 | | 34 | 42 | 46 | 128 | 54 |
| 短期有利子負債 | - | - | - | - | 1 | 1 | 18 | 22 | 46 | 77 |
| 未払金 | 119 | 123 | 126 | 63 | 99 | 67 | 53 | 113 | 206 | 159 |
| 未払費用 | 63 | 57 | 40 | 44 | 48 | 50 | 50 | 63 | 60 | 54 |
| 未払法人税等 | 16 | 15 | 1 | 21 | 14 | 20 | 21 | 80 | 31 | 20 |
| 未払消費税等 | | | | 14 | | | - | 37 | | |
| 繰延税金負債 | | | 1 | | | | | | | |
| 前受金 | 14 | | 14 | 1 | | 7 | | | | |
| 預り金 | 5 | 5 | 3 | 4 | 3 | 3 | 3 | 29 | 19 | 4 |
| その他 | 46 | - | 5 | - | - | - | - | 10 | 4 | 22 |
| **流動負債合計** | **262** | **200** | **190** | **149** | **164** | **183** | **187** | **401** | **494** | **389** |
| 長期有利子負債 | - | - | - | - | 2 | 2 | 27 | 18 | 177 | 291 |
| 資産除去債務 | | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 | 12 |
| 繰延税金負債 | 109 | 26 | 29 | 16 | 16 | 19 | 14 | 16 | 3 | - |
| その他 | - | - | - | - | - | - | - | - | 75 | 59 |
| **固定負債合計** | **109** | **38** | **41** | **27** | **31** | **33** | **53** | **46** | **267** | **362** |
| **負債合計** | **371** | **238** | **231** | **176** | **195** | **216** | **240** | **446** | **761** | **752** |
| **純資産** | | | | | | | | | | |
| 資本金 | 8,952 | 9,806 | 2,238 | 2,741 | 2,793 | 2,255 | 2,255 | 2,257 | 2,266 | 2,668 |
| 資本剰余金 | 4,236 | 5,090 | 2,238 | 2,931 | 2,983 | 2,445 | 2,445 | 2,447 | 2,455 | 2,857 |
| 利益剰余金 | -8,567 | -10,421 | -728 | -786 | -1,890 | -99 | -706 | 50 | 773 | 449 |
| 新株予約権 | 11 | 11 | 15 | 17 | 13 | 12 | 12 | 11 | 8 | 26 |
| **純資産合計** | **4,831** | **4,514** | **3,788** | **4,888** | **3,857** | **4,621** | **4,011** | **4,788** | **5,497** | **6,120** |
| **負債純資産合計** | **5,202** | **4,752** | **4,019** | **5,064** | **4,052** | **4,837** | **4,251** | **5,234** | **6,258** | **6,872** |
| 運転資金 | 29 | 80 | 65 | 452 | 7 | 718 | 496 | 1,170 | 483 | 697 |
| 有利子負債合計 | - | - | - | - | 3 | 2 | 46 | 39 | 222 | 368 |
| ネット・デット | -1,891 | -1,840 | -1,428 | -2,268 | -1,668 | -2,172 | -1,349 | -2,306 | -3,453 | -3,347 |

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<br>（百万円） | 14年12月期<br>連結 | 15年12月期<br>連結 | 16年12月期<br>連結 | 17年12月期<br>連結 | 18年12月期<br>連結 | 19年12月期<br>連結 | 20年12月期<br>連結 | 21年12月期<br>連結 | 22年12月期<br>連結 | 23年12月期<br>連結 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 営業活動によるキャッシュフロー (1) | -2,081 | -2,117 | -681 | -307 | -404 | -531 | -289 | 366 | 1,480 | -719 |
| 税金等調整前当期純利益 | -632 | -1,848 | -723 | -60 | -1,078 | 27 | -528 | 881 | 851 | -294 |
| 減価償却費 | 21 | 53 | 80 | 86 | 126 | 140 | 124 | 142 | 148 | 176 |
| 減損損失 | | | | | | | 3 | - | | |
| 固定資産売却損益・処分損 | | | | | | | -1 | - | | |
| 運転資本の増減 | 78 | -51 | 15 | -377 | 445 | -711 | 223 | -674 | 687 | -214 |
| 投資活動によるキャッシュフロー(2) | -796 | 666 | -441 | 534 | -368 | 216 | 225 | -279 | -48 | -135 |
| 有形及び無形固定資産の取得による支出 | -101 | -200 | -37 | -88 | -221 | -94 | -156 | -105 | -32 | -222 |
| 有形及び無形固定資産の売却による収入 | 2 | | | | | | 1 | - | | |
| FCF (1+2) | -2,877 | -1,451 | -1,122 | 226 | -772 | -315 | -64 | 87 | 1,432 | -854 |
| 財務活動によるキャッシュフロー | 762 | 1,702 | - | 1,007 | 99 | 696 | -7 | -16 | -30 | 793 |
| 短期借入金の純増減額 | | | | | | | - | - | | |
| 長期借入金の純増減額 | - | - | - | - | - | - | - | - | 12 | 40 |
| 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 | 640 | 1,686 | | 996 | 100 | 692 | 0 | 2 | 4 | 4 |
| 新株予約権の発行による収入 | 15 | 15 | | 11 | | 4 | | | | 783 |
| リース債務の返済による支出 | | | | | -1 | -1 | -7 | -18 | -45 | -52 |
| 現金及び現金同等物の増減（-は減少） | -2,031 | 252 | -999 | 1,229 | -644 | 371 | -139 | 179 | 1,439 | -15 |
| 現金及び現金同等物の期末残高 | 2,004 | 2,243 | 1,244 | 2,474 | 1,830 | 2,200 | 2,061 | 2,241 | 3,679 | 3,665 |

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

2023年12月期に営業活動により使用した資金は、2022年12月期（1,480百万円の獲得）に比べて2,198百万円減少し、719百万円となった。これは主に、税金等調整前当期純損失294百万円および減価償却費175百万円を計上したほか、棚卸資産の増加139百万円と法人税等の支払額121百万円による。

## 投資活動によるキャッシュフロー

2023年12月期に投資活動により使用した資金は、2022年12月期（48百万円の使用）に比べて87百万円減少し、135百万円となった。これは主に、有形固定資産の取得による支出204百万円、投資有価証券の取得による支出160百万円、投資有価証券の償還による収入250百万円による。

## 財務活動によるキャッシュフロー

2023年12月期に財務活動により獲得した資金は、2022年12月期（30百万円の使用）に比べて823百万円増加し、793百万円となった。これは主に、長期借入れによる収入50百万円、株式発行による収入782百万円およびリース債務の返済による支出52百万円による。

# 過去の業績

## 2024年12月期第1四半期実績（2024年5月15日発表）

## 業績概要

### 2024年12月期第1四半期（2024年1月～3月）累計実績

- 事業収益：649百万円（前年同期比75.1%増）
- 営業利益：45百万円（前期は109百万円の損失）
- 経常損失：77万円（同110百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：78百万円（同148百万円の損失）
- 研究開発費：359百万円（同33.8%増）

当第1四半期における2024年12月期連結業績予想に対する進捗率は、事業収益14.3%、営業利益14.2%となった。

### 増収増益の要因

当第1四半期は、上市品4製品のロイヤルティ551百万円（前年同期比57.4%増）に加え、テゴプラザンの中南米4カ国における承認取得と、TRPM8遮断薬の豪州における第Ⅰ相臨床試験の実施許可取得に伴い、一時金を受領した。契約一時金を含むその他の売上高は、97百万円（同385.0%増）となった。

事業費用の総額は604百万円（前年同期比26.0%増）、うち事業原価は61百万円（同1.9%増）、研究開発費は359百万円（同33.8%増）、その他販売費及び一般管理費は185百万円（同21.8%増）となった。研究開発費の増加は、グレリン受容体作動薬の前臨床試験の進捗や、原薬の製造が主因である。コストが増加したものの、事業収益の増加により営業利益は44百万円と黒字転換した。為替差益42百万円などの営業外収益を計上したが、デリバティブ評価損27百万円、シンジケートローン契約によるアレンジメントフィー140百万円を営業外費用に計上し、経常損失、四半期純損失となった。

# パイプラインの状況

### 上市済4製品のロイヤルティは好調

#### ペット用医薬品の状況

エランコ社に導出した犬の骨関節炎治療薬GALLIPRANT®（一般名：グラピプラント）および犬の食欲不振症の適応を持つENTYCE®（一般名：カプロモレリン）、および慢性腎不全の猫の体重減少管理の適応を持つELURA®（一般名：カプロモレリン）の売上高は、引き続き順調に推移している。ELURA®については2024年2月、Elanco社が農林水産省から日本国内における製造販売承認を取得した。2023年に製造販売承認を取得した欧州と合わせて、Elanco社によって製品発売に向けた準備が進められている。

2024年4月、同社が保有する4つの開発化合物について、米Velovia Pharma, LLC（非上場、以下、Velovia社）との間で、動物用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約を締結した。同社はVeloviaに対し、4つの開発化合物（以下、同化合物）を含有する動物用医薬品の評価、開発、製造および販売などに関する独占的ライセンスに関するオプションを付与する。Velovia社から1つまたは複数の同化合物に対してオプションが行使された場合、同社はVelovia社からオプション行使料を受け取るとともに、その後の開発の進捗に応じたマイルストンの支払いを受ける権

利を取得する。さらに、同化合物を含有する動物用医薬品が販売に至った場合、同社は製品売上高に基づく販売ロイヤルティおよび売上マイルストンを、Velovia社から受け取る可能性がある。

**テゴプラザンの世界各国における展開**

テゴプラザン（K-CAB®）は、韓国における売上が引き続き順調に推移した。 HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB®」の当期における売上（院外処方データ）は、452億ウォン（前年同期比26.8%増、約4,972百万円、1韓国ウォン0.11円換算）と順調に推移した。2024年1月に開始されたBoryung Pharmaceutical Co.,Ltd.（KRX：003850、保寧製薬）グループとのコ・プロモーション（共同販促）や、販売チャネルの変更が奏功した。韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは14%に伸長し、引き続きシェア1位を維持している。

2024年4月には、HKイノエン社がサウジアラビアのTabuk Pharmaceutical Manufacturing Company（非上場、以下、Tabuk社 ）と10カ国におけるサブライセンス権付独占的ライセンス契約を締結した。HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が開発・製造・販売にかかる取り組みを進めているのは、韓国を含めて46カ国となった。当第1四半期においては、サブライセンス先企業であるメキシコのLaboratories Carnot（非上場、以下、Carnot社）がチリ、ドミニカ共和国、ホンジュラスおよびニカラグアの4カ国において、現地当局から販売承認を取得した。これに伴い、同社はHKイノエン社との契約に基づき一時金を受領した。2024年5月時点でテゴプラザンが販売されているのは、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポール、ペルーの8カ国である。

## 導出済・導出準備パイプラインの状況

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

Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）に導出したTRPM8遮断薬（RQ-00434739/XG2002）については、2024年3月に豪州における第Ⅰ相臨床試験の実施許可を現地の研究倫理委員会から取得したことに伴い、同社は一時金を受領した。同年4月にはXgene社が最初の被験者登録を公表し、第Ⅰ相臨床試験を開始した。同社はXgene社とのライセンス契約に基づき、開発段階に応じたマイルストンおよび製品販売後の製品売上高に応じたロイヤルティ収入を受領する権利を有している。

導出準備プログラムについては、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。また、テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売に係る権利を同社が保有しており、前年に引き続き提携先候補企業との協議を進めている。その他の導出準備プログラムについても、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせて提携先獲得を目指した事業開発活動を実施した。

探索研究段階では、新たな開発化合物の創出に向けた探索研究プログラムに注力しているほか、「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、既存技術と新たな取り組みの相乗効果により次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、自社単独の研究に加えてスタートアップや創薬ベンチャーとの協業を進めている。

## タミバロテンの状況

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした第Ⅲ相臨床試験および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした第Ⅱ相臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。当第1四半期では、RARA遺伝子過剰発現を有する高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）患者を対象として実施している第Ⅲ相臨床試験（SELECT-MDS-1）について、シロス社は主要評価項目の解析に必要な症例登録を完了した。2024年12月期第4四半期半ばまでに、CR（完全奏効率）のピボタルデータの発表を予定している。

2024年4月には、米国FDAより急性骨髄性白血病（AML）を対象としたファストトラック指定を受けた。AMLを対象とした第Ⅱ相臨床試験（SELECT-AML-1）では、2023年12月に無作為化試験パートにおける初期データが発表された。現在の標準治療であるベネトクラクス/アザシチジンの2剤併用群の完全寛解/不完全血球回復を伴う完全寛解（CR/CRi*2）率が70%（10例中7例）であったのに対し、タミバロテンを含む3剤併用群では全ての患者（9例中全例）においてCR/CRiが短期間で達成された。シロス社は2024年12月期第4四半期に、追加データの発表を予定している。

## ファイメクス社の子会社化

2024年3月、同社はファイメクス社の発行済株式および新株予約権のすべてを取得し、子会社化した。ファイメクス社は、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤を用いて、新規医薬品の研究開発を進める創薬ベンチャー企業である。独自のE3リガーゼ結合分子と創薬基盤技術「RaPPIDS™」を基に、従来治療薬の創製がきわめて困難

（アンドラッガブル）とされてきた疾患に対する革新的な医薬品の創出を目指している。ファイメクス社のビジネスモデルは、自社で研究開発を進めたパイプラインの導出によって収益を上げるパイプライン型と、製薬会社との共同研究により収益を上げるプラットフォーム型を組み合わせた、ハイブリッド型である。

ファイメクス社の子会社化により、同社はプラットフォーム技術の獲得による創薬バリューチェーンの強化、ビジネスモデルのハイブリッド化による収益の増加、がん領域の強化と拡充を見込んでいる。同社はファイメクス社の子会社化に際し、シンジケートローンにより3,500百万円を調達した。これに伴い、自己資本比率は55.9%（前期末比32.8%ポイント低下）となった。なお、完全子会社化に伴い、第2四半期からファイメクス社の業績が損益計算書に反映される。貸借対照表にはみなし取得日である2024年3月31日付けで連結計上しており、資産は前期末比55.6%増、負債が同524.8%増と大幅に増加した。

# 2023年12月期通期実績（2024年2月14日発表）

## 業績概要

### 2023年12月期通期（2023年1月～12月）累計実績

- 売上高：1,901百万円（前期比34.8%減）
- 営業損失：337百万円（前期は866百万円の利益）
- 経常損失：経常損失293百万円（同904百万円の利益）
- 親会社株主に帰属する当期純損失：324百万円（同723百万円の利益）
- 研究開発費：1,373百万円（同9.9%増）

同社は、 期中の契約締結を目指して交渉中であったテゴプラザンの日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約と、猫の体重減少管理の適応を持つELURA®の欧州における承認・発売のマイルストンの達成が2024年12月期にずれ込むことになったため、2023年12月8日付で下方修正を行った。 修正後の2023年12月期連結業績予想に対する達成率は、売上高98.1%となった。

### 減収と営業損失計上の要因

前年同期にはロイヤルティ収入1,487百万円に加えて、契約一時金やマイルストンなどその他の収入が1,431百万円であった。テゴプラザンの日本における権利導出とELURA®のマイルストン達成が期ずれとなったことを主因に、前期比34.8%減収となった。販売ロイヤルティについても、テゴプラザンの中国における販売出遅れと、販売開始から5年が経過して韓国における伸び率が減少していることから、同社の想定に達しなかった。第4四半期（2023年10月～12月）3か月間の売上高は406百万円となり、販売ロイヤルティとその他収入の合計443百万円という下方修正時点の見通しを下回った。

事業費用の総額は2,239百万円（前期比9.1%増）、うち事業原価は同13百万円増加して245百万円（同5.8%増）、研究開発費は同124百万円増加して1,373百万円（同9.9%増）、その他販売費及び一般管理費は621百万円（同8.6%増）となった。グレリン受容体作動薬の委託費用の期ずれや採用計画に伴う人件費の減少により事業費用は期初予想の2,538百万円に対して下回ったものの、事業収益が減少するなかで事業費用が前期比9.1%増加し、337百万円の営業損失を計上した。為替差益52百万円などの営業外収益を計上したが、デリバティブ評価損25百万円などの営業外費用が増加し、経常損失、四半期純損失となった。

## パイプラインの状況

### 上市済4製品のロイヤルティは好調

#### ペット用医薬品の状況

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

#### テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB®）は、韓国における売上が引き続き順調に推移した。 HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB®」の当期における売上（院外処方データ）は、1,582億ウォン（前期比19.8%増、約17,402百万円、1韓国ウォン0.11円換算）と順調に推移した。韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは、13%で1位を維持している。

2023年12月末時点で、HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が、韓国を除く35カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。韓国に続き、世界で2番目に2022年から販売が開始された中国では、現在31の省・行政区でテゴプラザン製品が販売されている。さらに、ペルーにおいては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、サブライセンス先企業が取得した。現在テゴプラザンが販売されているのは、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポール、ペルーの8カ国となった。このほか、アルゼンチンなど、20以上の国で現地の規制当局による承認審査が行われている。米国においてもサブライセンス先のBraintree社が第III相臨床試験を実施しており、2024年中に承認申請を行う見通しである。

### 導出済・導出準備パイプラインの状況

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

当期においては、同社が株式会社AskAt（非上場、以下、AskAt社）に導出し、AskAt社からOxford Cannabinoid Technologies Ltd.（OCTP、LSE、以下、OCT社）にライセンスされたカンナビノイドCB2受容体作動薬（RQ-00202730/AAT-730/OCT46120）について、OCT社が第1相臨床試験を開始した。OCT社は化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）を主な適応症としてCB2作動薬の臨床開発を進める計画で、2023年7月に被験者への投与を開始している。

Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）に導出したTRPM8遮断薬（RQ-00434739/XG2002）については、Xgene社が前臨床試験を完了して第Ⅰ相臨床試験の準備を進めており、2024年3月に豪州当局から臨床試験開始が承認された。その他の導出済みプログラムについても、導出先企業において前臨床試験、臨床試験等の取り組みが行われた。

2023年4月には、同社が創製した5-HT$_4$作動薬（化合物コード：RQ-00000010、以下、RQ-10）について、フランスのVetbiolix SAS（非上場、以下、Vetbiolix社）との間で、ペット用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を締結した。この契約に基づき、同社はVetbiolix社に対してRQ-10を含有する動物用医薬品の開発、製造および販売に関する、独占的かつ全世界を対象としたサブライセンス可能なライセンスに関する独占的オプションを付与する。Vetbiolix社により独占的オプションが行使された時点で、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受け、また開発の進捗に応じたマイルストンおよび販売ロイヤルティなどを受け取る権利を取得する。

導出準備プログラムについては、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせ、さらなるライセンス先の獲得に向けた事業開発活動を展開している。テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売にかかる権利を同社が保有しており、引き続きライセンス先候補企業との協議を行っている。また、大型のライセンス契約の獲得を目指し、自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬については、さまざまな前臨床試験を実施しているほか、臨床試験用原薬の製造も実施した。

探索研究段階では、新たな開発化合物の創出に向けた探索研究プログラムに注力しているほか、創薬研究基盤の強化に取り組んでいる。「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、既存技術と新たな取り組みの相乗効果により次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、自社単独の研究に加えてスタートアップや創薬ベンチャーとの協業を進めている。それらの取り組みの一つとして、2022年12月から株式会社Veritas In Silico（非上場、以下 Veritas In Silico社）と、がん疾患に関連する複数の遺伝子を標的としたmRNA標的低分子医薬品の創出を目指した共同研究を進め、2023年12月に所定のマイルストンを達成した。

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。MDSは、RARA遺伝子過剰発現を有する高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）患者を用いた第III相臨床試験が進行中である。AMLについては、2023年12月、Syros社が第II相臨床試験無作為化試験パートにおける初期データを発表し、シロス社より臨床開発の実施に伴い発生する手数料を受領した。

## 2023年12月期第3四半期累計期間実績（2023年11月10日発表）

# 業績概要

### 2023年12月期第3四半期（2023年1月～9月）累計実績

- 事業収益：1,495百万円（前年同期比21.5%減）
- 営業損失：108百万円（前年同期は501百万円の利益）

- 経常損失：36百万円（同676百万円の利益）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：118百万円（同467百万円の利益）
- 研究開発費：934百万円（同11.2%増）

2023年12月期連結業績予想に対する当第3四半期累計期間の事業収益の進捗率は、53.4%となった。なお、同社は2023年12月8日付で当期業績予想を下方修正しており、修正後の事業収益予想に対する進捗率は77.2%となった。

### 減収と営業損失計上の要因

当第3四半期（2023年7月～9月）3カ月間の事業収益は、ロイヤルティ466百万円（前年同期比21.0%増）と、マイルストンに伴う一時金など15百万円（同79.2%減）の合計481百万円（同5.3%増）となり、第2四半期末時点の見通し561百万円を下回った。この主な要因は、中国における保険収載後に販売チャネルが変わり、テゴプラザンの売り上げが同社の想定ほど伸長しなかったことである。前年同期にはロイヤルティ収入1,083百万円に加えて、中国におけるテゴプラザンの承認・販売の一時金300百万円を含むその他の収入が820百万円であった。前年同期に対して当第3四半期に受領した一時金は軽微であり、第3四半期累計期間の事業収益は前年同期比21.5%減収となった。

事業費用の総額は1,603百万円（前年同期比14.3%増）、うち事業原価は同21百万円増加の189百万円（同12.8%増）、研究開発費は同94百万円増加の934百万円（同11.2%増）、その他販管費は479百万円（同21.4増）となった。研究開発費は、探索研究を軸にグレリンの前臨床試験の実施や臨床試験に向けた原薬製造などを行い、通期計画に対して55.8%の進捗となった。事業収益が減少するなかでコストが増加し、108百万円の営業損失を計上した。為替差益112百万円などの営業外収益を計上したが、デリバティブ評価損47百万円などの営業外費用が同3倍に増加し、経常損失、四半期純損失となった。

## パイプラインの状況

### 上市済4製品のロイヤルティは好調

#### ペット用医薬品の状況

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

#### テゴプラザンの世界各国における展開

テゴプラザン（K-CAB®）は、韓国における売上が引き続き順調に推移した。 HKイノエン社が韓国で販売している胃食道逆流症治療薬「K-CAB®」の当第3四半期における売上（院外処方データ）は、1,141億ウォン（前年同期比18.7%増、約11,410百万円、1韓国ウォン0.1円換算）と順調に推移した。韓国におけるK-CAB®の抗潰瘍剤市場でのシェアは、13%となった。なお、売り上げに占めるOD錠の割合は17.9%で、売り上げの伸びをけん引した。

当第3四半期末（2023年9月末）時点で、HKイノエン社のライセンス先である企業（以下、サブライセンス先企業）が、韓国を除く35カ国で開発・製造・販売にかかる取り組みを進めている。当第3四半期には新たにインドネシアおよびシンガポールにおいて、2023年10月にはペルーでも販売が開始された。これにより、現在テゴプラザンが販売されているのは韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコを含む8カ国となった。サブライセンス先の売上によるロイヤルティは、半年ごとにHKイノエン社からの受領を予定しており、インドネシア、シンガポール、ペルーの売上に対するロイヤルティは、2024年12月期から計上される見込みである。

韓国に続き、世界で2番目に2022年から販売が開始された中国では、現在31の省・行政区でテゴプラザン製品が販売されている。2023年12月にはピロリ菌除菌療法についても承認申請を行っており、承認されればびらん性胃食道逆流症と十二指腸潰瘍に次ぐ3番目の適応症となる。中国においては注射剤の開発も進められており、同社は中国における売上拡大を期待している。さらに、ペルーにおいては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、サブライセンス先企業が取得した。このほか、アルゼンチンなど、20以上の国で現地の規制当局による承認審査が行われている。

## テゴプラザンのグローバル展開状況

| 国・地域 | 導出先* | 販売・開発状況 | 市場規模（百万円） |
|---|---|---|---|
| 韓国 | HKイノエン社 | 2019年発売、シェア1位を維持 | 100,000 |
| 中国 | Luoxin社 | 2022年4月発売 | 410,000 |
| フィリピン | MPPI社 | 2022年10月発売 | 8,000 |
| モンゴル | Monos社 | 2022年10月発売 | - |
| メキシコ | Carnot社 | 2023年5月発売 | 57,000 *2 |
| インドネシア | Kalbe社 | 2023年7月発売 | 20,000 |
| シンガポール | UITC社 | 2023年9月発売 | 1,600 |
| ペルー | Carnot社 | 2023年10月発売 | 57,000 *2 |
| タイ、ベトナム、マレーシア | Pond's社、Lyhn farma社、Pharmaniaga社 | 承認審査中 | 27,000 |
| アルゼンチンなど中南米15カ国 | Carnot社 | 承認審査中 | 57,400 *2 |
| インドなど7カ国 | Dr.Reddy社 | 申請・開発準備中 | 130,000 |
| ブラジル | Eurofarma社 | 申請準備中 | 80,000 |
| 米国・カナダ | Braintree社 | 臨床試験中・2025年承認予定 | 370,000 |

出所：会社資料よりSR社作成（2023年11月時点）
* 導出先はHKイノエン社からのサブライセンス先を含む
*2 市場規模57,000百万円は、メキシコ、アルゼンチン、ペルーなど中南米17カ国の合計

## 導出済・導出準備パイプラインの状況

### 導出済パイプライン

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

当第3四半期累計期間においては、同社が株式会社AskAt（非上場、以下、AskAt社）に導出し、AskAt社からOxford Cannabinoid Technologies Ltd.（OCTP、LSE、以下、OCT社）にライセンスされたカンナビノイドCB2受容体作動薬（RQ-00202730/AAT-730/OCT461201）について、OCT社がイギリスで第1相臨床試験を開始した。OCT社は化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）を主な適応症としてCB2作動薬の臨床開発を進める計画で、2023年7月に被験者への投与を開始している。CIPNはある種の抗がん剤の副作用として発症し、化学療法を受けた患者の60%が罹患すると推定されており、痛みやしびれなどにより生活の質が低下する。第1相臨床試験では全コホートの投与が完了し、安全性および忍容性に関する懸念は認められず、OCT社は次段階の臨床試験に進めることができると考えている。

### 導出準備パイプライン

導出準備プログラムについては、対面での面談とオンライン会議を機動的に組み合わせ、さらなるライセンス先の獲得に向けた事業開発活動を展開している。テゴプラザンについては、日本における開発・製造・販売にかかる権利を同社が保有しており、早期上市を目指して引き続きライセンス先候補企業との協議を行っている。

大型のライセンス契約の獲得を目指し、自社で開発を進めているグレリン受容体作動薬については、さまざまな前臨床試験を実施しているほか、臨床試験用原薬の製造も行っている。グレリン受容体作動薬は脊髄の排便中枢における副交感神経節に作用し、大腸の蠕動運動の亢進による排便を誘発するメカニズムである。全世界で300千人以上存在する脊髄損傷者には、自律神経の障害による排便障害がある。既存の便秘薬は下痢を引き起こしやすいが、同社のグレリン受容体作動薬は自律的な排便を促進することで生活の質の向上を目指す。

### 探索研究段階のプログラム

探索研究段階では、新たな開発化合物の創出に向けた探索研究プログラムに注力しているほか、創薬研究基盤の強化に取り組んでいる。「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、既存技術と新たな取り組みの相乗効果により次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、自社単独の研究に加えてスタートアップや創薬ベンチャーとの協業を進めている。

### テムリック社における開発状況

連結子会社のテムリック社から米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したレチノイン酸受容体α作動薬（タミバロテン）については、骨髄異形成症候群（MDS）を対象とした第III相臨床試験および急性骨髄性白血病（AML）を対象とした第II相臨床試験が、シロス社によって米国で進められている。未治療高リスクMDSを対象とした第III相臨床試験については、2024年12月期第1四半期に組入を完了し、第4四半期に結果発表を行う予定である。

2023年12月、シロス社は急性骨髄性白血病（AML）を対象として現在実施中の第II相臨床試験の無作為化試験パートにおける初期データを発表した。無作為化パート試験は、安全性導入パートに続く2段目のパートとして実施されている。今回の発表においてシロス社は、本試験の主要評価項目である完全奏効率（CR）/不完全血液学的回復を伴う完全奏効率（CRi）が、タミバロテン/ベネトクラクス/アザシチジンの三剤併用療法では100%であったのに対し、対照群（ベネトクラクスおよびアザシチジンの二剤併用療法）では70%であったことのほか、三剤併用療法の安全性に関す

る初期データも良好な忍容性を示すことを発表した。シロス社は患者登録を継続しており、2024年に最新データを報告する予定である。

ほかにも膵がん・尿路上皮がんに対する臨床研究・医師主導治験が進行中であり、後継品プロジェクトとしてタミバロテン後継品の探索を実施している。

### 資金の状況と投資計画

同社は2022年12月、第三者割当による新株式および第16回新株予約権の発行による資金調達を行うことした。中期経営計画に示した探索研究投資や前臨床・臨床開発投資に加え、成長を加速するための追加投資について、同社の手元資金や蓋然性の高い収入では不足するため、開発投資に充当する新たな資金確保が必要と判断した。

2024年12月までに必要となる資金は自己資金と合わせて新株式発行による調達金額（約786百万円）を、2027年12月までに必要となる資金は新株予約権の行使により獲得した資金（約1,945百万円）を充当する予定である。2023年1月に第三者増資の払い込みを受け、資本金および資本剰余金がそれぞれ約393百万円増加した。また、新株予約権の行使および取締役に対する譲渡制限付き株式報酬としての新株発行による増加も含め、資本金および資本剰余金がそれぞれ約399百万円増加し、当第3四半期末時点の資本金は2,664,763千円、資本剰余金は2,854,546千円となった。

#### 資金の状況と配分

（単位：百万円）

| 資金の状況 | | 企業価値最大化に向けた投資 | |
|---|---|---|---|
| 2023年～2025年の事業収益見通し | 10,000 | 探索研究投資（既存領域の拡充） | 4,200 |
| 借入余力（コミットメントライン） | 1,700 | 前臨床・臨床開発投資（プロジェクトの価値向上）3カ年 | 1,200 |
| 手元資金（2023年12月期第3四半期末時点） | 5,200 | 設備投資（既存設備の拡充・DX投資など） | |
| エクイティ調達（普通株式） | 確保済み | 戦略投資（創薬技術の獲得など・M&Aを含む） | |
| エクイティ調達（新株予約権：計画） | 2,000 | | |

出所：会社資料よりSR社作成（2023年12月現在）
* 探索研究投資と前臨床・臨床開発投資は人件費を含む3カ年の計画値

# 2023年12月期第2四半期実績（2023年8月10日発表）

## 業績概要

### 2023年12月期第2四半期（2023年1月～6月）累計実績

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

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

### 減収と営業損失計上の要因

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

事業費用の総額は1,037百万円（前年同期比15.8%増）、うち事業原価は同18百万円増加して122百万円（同16.9%増）、研究開発費は同75百万円増加して603百万円（同14.2%増）、その他販売費及び一般管理費は312百万円（同18.7増）となった。研究開発費は、グレリンの前臨床試験を実施し、臨床試験に向けた原薬製造などを行い、通期計画に対して36.0%の進捗となった。事業収益が減少するなかでコストが増加し、営業損失を計上したが、為替差益90百万円などの営業外収益が営業外費用を上回り、経常利益、四半期純利益は黒字となった。

# パイプラインの状況

## 上市済4製品のロイヤルティは好調

### ペット用医薬品の状況

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

### K-CAB®：韓国におけるテゴプラザンは2ケタ成長を維持

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

## テゴプラザンの世界各国における展開

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

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

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

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

## 導出済パイプラインの状況

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

### サブライセンス先のOCT社が第Ⅰ相臨床試験を開始

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

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

### ペット用医薬品に関するオプションおよびライセンス契約の締結

2023年4月には、同社が創製した5-HT$_4$作動薬（化合物コード：RQ-00000010、以下、RQ-10）について、フランスのVetbiolix SAS（非上場、以下、Vetbiolix社）との間で、ペット用医薬品開発のためのオプションおよびライセンス契約を締結した。この契約に基づき、同社はVetbiolix社に対してRQ-10を含有する動物用医薬品の開発、製造および販売に

関する、独占的かつ全世界を対象としたサブライセンス可能なライセンスに関する独占的オプションを付与する。Vetbiolix社により独占的オプションが行使された時点で、同社はVetbiolix社からオプション料の支払いを受け、また開発の進捗に応じたマイルストンおよび販売ロイヤルティなどを受け取る権利を取得する。

## 導出準備パイプラインの状況

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

## 自社研究開発の進展

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

## タミバロテンの状況

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

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

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

シロス社では米国においてAMLの第Ⅱ相臨床試験を実施中で、2023年第4四半期に無作為化試験パートの結果発表を予定している。また、米国におけるMDSの第Ⅲ相臨床試験については、2024年第3四半期に結果を発表、2024年中に承認申請を予定している。当第2四半期において、同社はシロス社から臨床開発の実施に伴い発生する手数料を受領した。

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

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

# ニュース&トピックス

## ファイメクス社とアステラス製薬社の共同研究における初期目標達成および一時金受領

2024年5月13日

ラクオリア創薬株式会社は、子会社ファイメクス社とアステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下、アステラス製薬社）の共同研究において、初期目標を達成した、と発表した。同目標達成により、ファイメクス社はアステラス製薬社から一時金を受領する。

（リリースへのリンクはこちら）

2022年、ファイメクス社はアステラス製薬社と、標的タンパク質分解誘導剤の共同研究に関する契約を締結した。同契約に基づき、ファイメクス社は独自のプラットフォームであるRaPPIDS™を用いて、アステラス社とともにがんを標的疾患として複数の標的を対象とした、標的タンパク分解誘導剤の探索に取り組んでいる。今回達成した目標は、そのうちの特定の1つのプログラムに関するものである。

本件に伴い、ファイメクス社は200百万円をアステラス製薬社から受領し、2024年12月期第2四半期の事業収益として計上する。当該プログラムにおける今後の研究開発では、ファイメクス社によるさらなる最適化検討に加え、アステラス製薬社からの技術提携により開発化合物の探索を加速する。開発候補化合物が同定され、新たな医薬品の製品化に至った場合には、ファイメクス社は開発、申請・承認、販売などの進捗に応じたマイルストンとして、最大15,000百万円を上回る金額を受領するとともに、製品売上高に対して一桁台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

なお、同社は2024年3月26日付でファイメクス社の株式を取得して完全子会社化しており、本件による2024年12月期連結業績への影響については期初予想に織り込み済みである。

## 新規TRPM8遮断薬の豪州における第Ⅰ相臨床試験開始

2024年5月8日

ラクオリア創薬株式会社は、導出先であるXgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）が、新規TRPM8遮断薬の豪州における第Ⅰ相臨床試験の最初の被験者登録を公表した、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は2021年9月、同社が創製したTRPM8遮断薬（RQ-00434739/XG2002、以下、同化合物）について、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、香港のXgene社に供与するライセンス契約を締結した。

TRPM8は末梢感覚ニューロンに発現するイオンチャネルで、さまざまな疼痛症状やがん細胞において高発現している。Xgene社が実施した前臨床試験で、同化合物は複数の疼痛モデル動物においてTRPM8を阻害し、優れた鎮痛効果を示すとともに、良好な安全性プロファイルを示した。Xgene社は、片頭痛や糖尿病性疼痛などの神経障害性疼痛を含む、さまざまな急性疼痛および慢性疼痛の治療薬となる可能性があると期待している。第1相臨床試験では、健康なボランティアを対象とした用量漸増試験により、同化合物の忍容性および薬物動態を評価することで、その後の臨床試験に重要となる情報を取得する予定である。

同社はXgene社とのライセンス契約に基づき、開発段階に応じたマイルストンおよび製品販売後の製品売上高に応じたロイヤルティ収入を受領する権利を有している。本件に伴う一時金はなく、2024年12月期業績への影響はないものの、Xgene社による開発の進展は、同化合物の中長期的な価値向上に資するものと同社は考える。

## 胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中東・北アフリカ地域におけるサブライセンス について

2024年4月23日

ラクオリア創薬株式会社は、胃食道逆流症治療薬tegoprazanの中東・北アフリカ地域におけるサブライセンスに関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社のライセンス先であるHKイノエン社が、同社がHKイノエン社に導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、中東・北アフリカ地域を対象地域としたライセンス契約（以下 本契約）を締結したことを公表した。

HKイノエン社が本契約を締結した Tabuk Pharmaceutical Manufacturing Company（非上場 以下 Tabuk社 ）は、サウジアラビアの大手製薬企業であり、中東・北アフリカ地域の17カ国で医薬品を販売している。本契約の締結により、Tabuk社は中東・北アフリカ地域においてテゴプラザン製品を販売するための権利を取得する。同地域におけるにTabuk社の強力な市場プレゼンスを背景に、高い成長ポテンシャルをもつ新興市場におけるテゴプラザンの展開が大きく加速すると同社は期待している。

同社は、HKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結している。HKイノエン社および同社からライセンスまたは製品輸出を受けた世界各国の提携先企業によってテゴプラザンに関する事業活動が進められている。本契約の締結により、テゴプラザンは世界46カ国に進出することとなった。現時点でテゴプラザン製品が販売されている国は、韓国、中国、フィリピン、モンゴル、メキシコ、インドネシア、シンガポールおよびペルーの8カ国に上る。また、チリ、ドミニカ共和国、ホンジュラスおよびニカラグアでも現地当局の承認を取得済みであり、その他の中南米諸国でも承認審査が進行中である。このほか、米国およびカナダ等の国々で臨床開発が進められている。HKイノエン社は、2028年までに世界100カ国に進出することを目指している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社が提携先から受け取る収益の一部を受け取る権利を保有している。本件に伴い、同社はHKイノエン社から一時金を受領し、2024年12月期第2四半期の事業収益として計上する。なお、本件による2024年12月期の連結業績への影響は織り込み済みである。

# タミバロテンが米国FDAからAMLを対象にファストトラック指定

2024年4月10日

ラクオリア創薬株式会社は、子会社テムリック社が米国Syros Pharmaceuticals Inc.（NASDAQ、SYRS、以下、シロス社）に導出したタミバロテンについて、米国FDAより急性骨髄性白血病（AML）を対象としたファストトラック指定を受けた、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

今回FDAからファストトラック*指定を受けたのは、急性骨髄性白血病（AML）であると新たに診断された、未治療の患者に対するタミバロテン/ベネトクラクス/アサシチジンの3剤併用療法である。タミバロテンはレチノイン酸受容体のサブタイプ（RARα）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、ほかの抗腫瘍剤との併用による相乗効果が期待される化合物である。

現在シロス社は第 II 相臨床試験（SELECT-AML-1）を実施しており、2023年12月に無作為化試験パートにおける初期データが発表された。現在の標準治療であるベネトクラクス/アサシチジンの2剤併用群の完全寛解/不完全血球回復を伴う完全寛解（CR/CRi*2）率が70%（10例中7例）であったのに対し、タミバロテンを含む3剤併用群では全ての患者（9例中全例）においてCR/CRiが短期間で達成された。シロス社は2024年中に、追加データの発表を予定している。

* ファストトラックとは、重篤な疾患の治療を目的として、アンメットメディカルニーズ（未充足の医療ニーズ）に応える可能性が非臨床または臨床データから示された医薬品候補物質の開発を促進し、審査を迅速化するためにFDAが策定したプロセスである。ファストトラック指定を受けた医薬品候補物質は、開発計画に関するFDAとの意見交換をより頻繁に行うことができるほか、臨床データによる裏付けがあれば、優先審査や迅速承認の対象となる可能性がある。
*2 治療効果の指標であり、CR（Complete Remission ）は完全寛解、CRi（Complete Remission with incomplete blood count recovery）は血液の回復が不完全な完全寛解を意味する。CRiは、患者の骨髄に存在する白血病細胞の割合が5%未満であるが、好中球もしくは血小板のどちらか、または両方の回復が不完全な状態。

このほか、シロス社はRARA遺伝子過剰発現を有する未治療高リスク骨髄異形成症候群（HR-MDS）患者を対象に、FDAファストトラック指定の下でタミバロテンと高リスクMDSの標準治療薬アザシチジンとの併用による第 III 相臨床試験を実施中である。主要評価項目の解析に必要な症例登録（対象患者190名）は2024年12月期第1四半期に完了し、中間的な完全寛解データが第4四半期中頃までに得られる見通しである。

同社はタミバロテンに関し、シロス社から開発段階に応じたマイルスト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。骨髄異形成症候群（MDS）と急性骨髄性白血病（AML）は生命予後に重篤な影響を与える疾患であり、シロス社によれば、2028年におけるMDS治療薬およびAML治療薬の全世界の市場規模は、それぞれ75億米ドル（約1兆円、1米ドル135円換算）、47億米ドル（約63百万円、同）と予想されている。なお、本件に伴う一時金はなく、2024年12月期の通期連結業績予想への影響はないが、AMLを適応疾患としたタミバロテンの開発および承認の加速化につながり、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。

## 米Velovia Pharmaとのペット用医薬品の開発に関する契約締結

2024年4月3日

ラクオリア創薬株式会社は、同社が保有する4つの開発化合物について、米Velovia Pharma, LLC（非上場、以下、Velovia Pharma社）との間で、動物用医薬品を開発するためのオプションおよびライセンス契約を締結する、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社はVelovia Pharma社に対し、4つの開発化合物（以下、同化合物）を含有する動物用医薬品の評価、開発、製造および販売などに関する独占的ライセンスに関するオプションを付与する。同社の同化合物のペット用医薬品への適用可能性について、動物用医薬品の開発に取り組むVelovia Pharma社が関心を表明し、双方の希望が合致したことから契約締結に至った。Velovia Pharma社から1つまたは複数の同化合物に対してオプションが行使された場合、同社はVelovia Pharma社からオプション行使料を受け取るとともに、その後の開発の進捗に応じたマイルストンの支払いを受ける権利を取得する。さらに、同化合物を含有する動物用医薬品が販売に至った場合、同社は製品売上高に基づく販売ロイヤルティおよび売上マイルストンを、Velovia Pharma社から受け取る可能性がある。

なお同社によれば、本件による2024年12月期通期業績への影響はなく、業績予想に変更はないものの、本件が同社の開発パイプラインの強化につながり、中長期的に同社の事業収益および企業価値の向上に寄与すると同社は考える。

## 新規TRPM8遮断薬の豪州における第Ⅰ相臨床試験の実施承認

2024年3月11日

ラクオリア創薬株式会社は、導出先であるXgene Pharmaceutical Co. Ltd.（非上場、以下、Xgene社）が新規TRPM8遮断薬の豪州における第Ⅰ相臨床試験の実施許可を現地の研究倫理委員会から取得した、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は2021年9月、同社が創製したTRPM8遮断薬について、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、香港のXgene社に供与するライセンス契約を締結した。Xgene社が実施した前臨床試験では、TRPM8遮断薬（RQ-00434739/XG2002）は複数の疼痛モデル動物において優れた鎮痛効果を示すとともに良好な安全性プロファイルを示した。Xgene社は、片頭痛や糖尿病性疼痛などの神経障害性疼痛を含む、さまざまな急性疼痛および慢性疼痛の治療薬となる可能性があると考える。今般、Bellberry Human Research Ethics Commitee（HREC）から承認された第1相臨床試験では、健康なボランティアを対象とした用量漸増試験により、忍容性および薬物動態を評価し、その後の臨床試験に重要となる情報を取得する予定である。

同社はXgene社とのライセンス契約に基づき、契約一時金を受領し、さらに開発段階に応じたマイルストンおよび販売額に応じたロイヤルティ収入を受領する権利を有している。本件に伴い、同社はXgene社からマイルストン達成にかかる一時金を受領し、2024年12月期第1四半期の事業収益として計上する。なお、同社によれば、本件の今期業績への影響は、2024年2月14日に開示された2024年12月期連結業績予想に織り込み済みである。

## 子会社化に伴う資金調達

2024年3月8日

ラクオリア創薬株式会社は、ファイメクス株式会社（非上場、以下、ファイメクス社）の株式取得に伴う資金調達を行う、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は同日開催の取締役会において、資金の借入を行うことを決議した、と発表した。同社は2024年2月14日にファイメクス社の全株式を取得して子会社することを発表しており、株式取得に際しての資金を調達する。なお、同社によ

れば、この資金調達による同社の2024年12月期通期連結業績への影響は、2024年2月14日に公表した業績予想に織り込み済みである。

### 借入の概要

| | |
|---|---|
| 借入先 | 株式会社みずほ銀行をアレンジャー、株式会社商工組合中央金庫をコ・アレンジャーとするシンジケート団 |
| 借入金額 | 3,500百万円 |
| 借入実行日 | 2024年3月25日（予定） |
| 借入期間 | 7年（84カ月） |
| 利率 | 基準金利＋スプレッド |
| 返済方法 | 2024年6月末日を初回とし、以降3カ月ごとに元金均等返済 |
| 主な財務制限条項 | 2024年12月期以降、各年度の決算期における単体の損益計算書に示される数値で計算されるEBITDAが、2期連続してマイナスとならないこと。（EBITDA=営業利益＋減価償却費） |

## 胃食道逆流症治療薬tegoprazanのチリにおける販売承認

2024年2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のチリにおける販売承認に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は、HKイノエン社に導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（韓国販売名「K-CAB®」、以下、テゴプラザン）について、　サブライセンス先企業であるLaboratories Carnot（非上場、以下、Carnot社）が、チリ国家医薬品庁（Agencia Nacional de Medicamentos（ANAMED）、以下、チリ当局）より、びらん性胃食道逆流症をはじめとする4つの適応疾患に対する販売承認を取得した、と発表した。

同社は、HKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結しており、HKイノエン社および同社からライセンスを受けた世界各国のサブライセンス先企業によってテゴプラザンに関する事業活動が進められている。今回のチリでの販売承認は、韓国、モンゴル、中国、フィリピン、インドネシア、シンガポール、メキシコ、ペルーに次ぐ9カ国目となる。

2019年に、HKイノエン社とCarnot社の間でメキシコ、ペルー、チリを含む中南米17カ国を対象としたサブライセンス契約が締結され、以後、Carnot社が販売承認の取得に向けた取り組みを進めていた。このたび、チリ当局による審査が完了し、販売承認の取得に至った。今回、承認が得られたKi-CAB®（チリにおける製品名）の適応疾患は、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法の4つである。同社によれば、チリを含む中南米17カ国における消化性潰瘍薬の市場規模は5,740億ウォン（約63,100百万円、1韓国ウォン0.11円換算）であり、2023年5月には中南米における医薬品市場第2位のメキシコにおいて販売が開始された。同社は、メキシコ、ペルー、チリに続き、他の中南米諸国でも製品上市に向けた動きが進展することを期待している。

同社は、HKイノエン社とのライセンス契約に基づき、HKイノエン社がCarnot社から得る収益の一定割合を受け取る権利を保有している。なお、同社はHKイノエン社から一時金を受領して2024年12月期第1四半期の事業収益として計上し、2024年12月期業績予想には織り込み済みである。

## ファイメクス株式会社の株式取得（子会社化）

2024年2月14日

ラクオリア創薬株式会社は、ファイメクス株式会社（非上場、以下、ファイメクス社）の株式を取得し、子会社化する、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

2018年創業のファイメクス社は、創薬の新たなモダリティである標的タンパク質分解誘導剤を用いて、新規医薬品の研究開発を進める創薬ベンチャー企業である。独自のE3リガーゼ結合分子と創薬基盤技術「RaPPIDS™」を基に、従来治療薬の創製がきわめて困難（アンドラッガブル）とされてきた疾患に対する革新的な医薬品の創出を目指している。ファイメクス社はRaPPIDS™を改良・進化させることにより、600種以上知られているE3リガーゼの中から、標的ごとに最適なE3リガーゼを特定し、新規のE3リガーゼバインダーを取得する技術を確立している。

2022年、ファイメクス社はアステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下、アステラス製薬社）と、複数の標的に対する共同研究に関する契約を締結した。当該共同研究契約に基づき、ファイメクス社は契約一時金500百万円および研

究資金を受領した。医薬品候補物質の特定後はアステラス製薬社により開発が行われることとなり、ファイメクス社は標的プログラムごとに開発の進捗に応じたマイルストンを受領するとともに、製品化後は売上高に応じた販売マイルストンと一桁台の料率のロイヤルティを受領する可能性がある。

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

## 株式取得の理由

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

**① 創薬バリューチェーンの強化による事業の成長性と競争力の向上**

同社は従来、イオンチャネルやGPCRを標的とした低分子化合物の創薬研究基盤を強みとし、多くの医薬品候補物質を生み出している。2022年より「モダリティ」「創薬標的」「疾患領域」「基盤技術」という4つの切り口で、次世代の自社創薬バリューチェーンを確立することを目指し、複数のスタートアップや創薬ベンチャー企業との協業を進めている。ファイメクス社のRaPPIDS™プラットフォームにより、標的タンパク質分解誘導剤という新たなモダリティに進出するための基盤技術を手にし、これまでアンドラッガブルであった標的分子や疾患領域をも創薬の対象とすることができる。ファイメクス社の子会社化により、同社が目指す次世代の自社創薬バリューチェーンの強化が大きく前進することが期待される。

**② プラットフォーム型ビジネスによる収益の増加**

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

**③ がん領域のさらなる強化と拡充**

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

## 株式取得の対価および方法

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

① クロージング対価

同社は、2024年3月26日付で売主に対し、クロージング対価4,500百万円を現金にて支払う。

② アーンアウト対価

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

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

### 取得株式数、取得価額及び取得前後の所有株式の状況

| | |
|---|---|
| 異動前の所有株式数 | 0株（議決権の数：0個、議決権所有割合：0%） |
| 取得株式数 | 発行済株式数：35,352 株、新株予約権: 1,141 個 |
| クロージング時の取得価額の総額 | 取得価額 4,500百万円<br>アドバイザリー費用等（概算額）17百万円 |
| 異動後の所有株式数 | 35,352株（議決権の数：35,352個、議決権所有割合：100%） |
| 取得価額の内訳 | 株式譲渡実行日時点で現金 4,500 百万円を支払う。またアーンアウト対価として、ファイメクス社と他者との契約等から発生した契約一時金収入、マイルストン収入、ロイヤルティ収入及び委受託に係る収入に基づき、あらかじめ定めた算定方法を用いて求められた金額を売主に対して支払う。 |
| 株式譲渡実行日 | 2024年3月26日（予定） |

同社によれば、本株式取得によりのれんを計上する見込みであるが、金額については現在精査中である。また、ファイメクス社の業績は、2024年12月期第2四半期より同社の連結業績に反映される。なお、本件による2024年12月期の連結業績への影響については、連結業績予想に織り込み済みである。

## コミットメントライン期間の延長

2024年2月1日

ラクオリア創薬株式会社は、コミットメントライン期間の延長に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は、2022年2月より、株式会社三菱UFJ銀行との間でコミットメントライン契約（以下、当該契約）を締結しているが、今後の事業活動で一時的に生じる資金需要に対して、機動的かつ安定的な資金調達手段を確保し、財務基盤の強化・安定を図る為、当該契約で定めるコミットメント期間を延長すると、発表した。

**コミットメントライン契約の概要**

| | |
|---|---|
| 契約締結先 | 株式会社三菱UFJ銀行 |
| 契約金額 | 1,000百万円 |
| 契約締結日 | 2022年2月22日 |
| 契約期間 | 1年間 |
| コミットメント期限（延長前） | 2024年2月27日 |
| コミットメント期限（延長後） | 2025年2月27日 |
| 担保の有無 | 無担保 |

なお、本件による同社グループの2024年12月期通期連結業績への影響は軽微である。

## 胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中国におけるヘリコバクター・ピロリ菌除菌療法の承認申請

2023年12月15日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中国におけるヘリコバクター・ピロリ菌除菌療法の承認申請に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は、中国におけるサブライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）による、 胃酸分泌抑制剤tegoprazan（以下、テゴプラザン）の ヘリコバクター・ピロリ感染症の治療を目的とした併用療法（以下、ピロリ菌除菌療法）の適応症追加に関する販売申請が、中国当局に受理された、と発表した。

中国においては、2015年に韓国のHKイノエン社とLuoxin社との間で中国におけるテゴプラザン（中国販売名（登録商標） 泰欣赞®（タイシンザン））のサブライセンス契約を締結し、開発・製造・販売はLuoxin社により行われている。2022年4月にびらん性胃食道逆流症を適応疾患とする承認を取得後わずか15日でLuoxin社はテゴプラザンの販売を開始し、2023年3月には医療保険の償還対象となった。また、2023年11月には、十二指腸潰瘍治療薬としての製造販売承認を中国当局から取得した。

テゴプラザンは、同社が創出した「カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）」と呼ばれる新しい作用機序の胃酸分泌抑制剤である。P-CABは、胃酸分泌抑制剤の第一選択薬であるプロトンポンプ阻害剤（PPI）とは異なるメカニズムで、PPIよりも速やかにかつ持続的に胃酸分泌を抑制するという特徴を持つ。Luoxin社はピロリ菌感染中国人患者における14日間の除菌率を主要な有効性評価項目とする第3相臨床試験において、テゴプラザン含有ビスマス4剤併用療法が、対象群のエソメプラゾール含有ビスマス4剤併用療法に対して、統計的有意差をもって高い除菌率を示したことを発表した。対象群に含まれるエソメプラゾールは、代表的なPPIの一つである。

ピロリ菌除菌療法においては、胃の中のpH値を高く保ち、抗菌薬の活性低下を防ぐことが重要である。同社によれば、この点について、P-CABの特徴がPPIに対して有利に働く。ピロリ菌は消化性潰瘍、胃がんなどさまざまな疾患の発症に関与している。そのため中国国内および国際的なガイドラインやコンセンサスでは、ピロリ菌感染が確認された場合にはピロリ菌除去療法を行うことが推奨されている。

今回の申請が承認されると、中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と十二指腸潰瘍に次ぐ3つ目となる。疫学調査によると、中国におけるピロリ菌の感染率は40%～60%とされている。中国では注射剤の開発も進められており、同社は中国におけるテゴプラザンの売上拡大を期待している。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、販売後の売上に応じたロイヤルティなどでHKイノエン社が得る収益の一定割合を受け取る権利を有する。本件により同社が受け取る一時金はなく、2023年12月期の通期連結業績への影響はないものの、中国におけるテゴプラザンの適応拡大は今後の売上高増大につながることから、中長期的に事業収益および企業価値の向上に寄与すると同社は考える。

# Veritas In Silico社との共同研究契約におけるマイルストン達成

2023年12月14日

ラクオリア創薬株式会社は、株式会社Veritas In Silico（非上場、以下、Veritas In Silico社）との共同研究において、2022年12月に締結した共同創薬研究契約で定めるマイルストンを達成した、と発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は2022年12月、Veritas In Silico社との共同研究により、メッセンジャーRNA（以下、mRNA）を標的とした、mRNA標的低分子医薬品の創出に取り組むことを発表した。共同研究では、同社が定めるがん疾患に関連する複数の遺伝子を標的として、対応するmRNA上の標的構造の同定から、ハイスループットスクリーニングによるヒット化合物の取得、ヒット化合物の合成展開によるリード化合物の取得、リード化合物最適化による開発候補化合物の取得に至る、複数年の創薬研究を行う。

共同創薬研究契約で定める基準を超える成果の創出に至ったことから、同社はVeritas In Silico社に対してマイルストン達成に伴う一時金を支払う。同社によれば、本件による2023年12月期業績への影響は軽微であり、同年12月8日に公表した通期連結業績予想に織り込み済みである。中長期的には、同社の研究開発ポートフォリオの強化および開発パイプラインの拡充につながると同社は考える。

# 2023年12月期通期連結業績予想の修正

2023年12月8日

ラクオリア創薬株式会社は、2023年12月期連結業績予想の修正に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

**2023年12月期通期連結業績予想の修正**

- 売上高：1,938百万円（前期比33.6%減、前回予想：2,799百万円）
- 営業損失：409百万円（前期は866百万円の利益、同：260百万円の利益）
- 経常損失：340百万円（同904百万円の利益、同：242百万円の利益）
- 親会社株主に帰属する当期純損失：426百万円（同723百万円の利益、同：183百万円の利益）

- 1株当たり当期純損失：19.73円（同34.50円の利益、同：8.74円の利益）

**修正の理由**

交渉中の胃酸分泌抑制剤tegoprazan（テゴプラザン）の日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約と、猫の体重減少管理の適応を持つELURA®（一般名：カプロモレリン）の欧州における承認・発売のマイルストンの達成が2024年12月期にずれ込むことになったためである。

これらの期ずれ要因による2023年12月期業績への影響額は、マイナス900百万円となる。なお、為替相場変動による業績への影響額は通期でプラス84百万円と見込んでいる。これは期初計画の想定為替レート1米ドル125円に対し、期中平均レートが1米ドル138円程度となることによるもの。事業費用は、前回予想から191百万円（同7.5%）減少する見通しである。

# 事業計画及び成長可能性に関する事項の修正

ラクオリア創薬株式会社は、2023年12月期から2025年12月期までの3年間の中期経営計画の修正に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

| | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 | 23年12月期 | 24年12月期 | 24年12月期 | 25年12月期 | 3年間 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| （百万円） | 連結 | 連結 | 期初会予 | 新会予 | 前目標 | 新目標 | 目標 | CAGR |
| **事業収益** | **2,776** | **2,918** | **2,799** | **1,938** | **2,966** | **3,924** | **4,185** | |
| 前年比 | 150.7% | 5.1% | -4.1% | -33.6% | 6.0% | 102.5% | 6.7% | 12.8% |
| **事業費用** | **2,068** | **2,052** | **2,538** | **2,538** | **2,657** | **3,721** | **2,860** | |
| 前年比 | 29.8% | -0.8% | 23.7% | 23.7% | 4.7% | 46.6% | -23.1% | 11.7% |
| 事業費比率 | 74.5% | 70.3% | 90.7% | 131.0% | 89.6% | 94.8% | 68.3% | |
| **営業利益** | **708** | **866** | **260** | **-409** | **309** | **203** | **1,325** | |
| 前年比 | - | 22.4% | -70.0% | - | 18.8% | - | 552.7% | 15.2% |
| 営業利益率 | 25.5% | 29.7% | 9.3% | - | 10.4% | 5.2% | 31.7% | |
| **経常利益** | **864** | **904** | **242** | **-340** | **317** | **193** | **1,330** | |
| 前年比 | - | 4.7% | -73.2% | - | 31.0% | - | 589.1% | 13.7% |
| 経常利益率 | 31.1% | 31.0% | 8.6% | - | 10.7% | 4.9% | 31.8% | |
| **当期純利益** | **756** | **723** | **183** | **-426** | **248** | **90** | **1,166** | |
| 前年比 | - | -4.3% | -74.7% | - | 35.5% | - | 1195.6% | 17.2% |
| 当期純利益率 | 27.2% | 24.8% | 6.5% | - | 8.4% | 2.3% | 27.9% | |

出所：会社資料よりSR社作成

同社は、最近の業績動向などについて検討した結果、2023年2月14日に公表した「事業計画および成長可能性に関する事項（2023年12月期～2025年12月期）中期経営計画2023-2025」の修正を行った。

**主な増減要因**

2023年12月期については、交渉中のテゴプラザンの日本国内を対象とした開発・製造・販売にかかる権利のライセンス契約と、猫の体重減少管理の適応を持つELURA®の欧州における承認・発売のマイルストンの達成が2024年12月期にずれ込むことになったため、下方修正を行った。期ずれによる影響額はマイナス900百万円、為替による影響額プラス84百万円を見込む。また、事業費用については前回発表予想比191百万円減少する見通しである。

2024年12月期については、前回発表予想比958百万円増加する見通しとなった。これは主に、前期の事業収益として見込んでいたテゴプラザンの契約一時金とマイルストンの合計900百万円がずれ込むことによる。事業費用は、前回発表予想比1,064百万円増加する見通しとなった。これは主に、新たなライセンス契約締結時に支払う一時金などの費用が約500百万円に上ることに加え、開発化合物創出に向けた外部委託が当期に集中することにより、研究費用が約370百万円増加するためで、同社は一過性の増加と想定している。

ビジネスモデルや競争力の源泉、投資戦略など事業計画に変更はないことから、最終年度である2025年12月期の目標は据え置きとなった。

# 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について発表

2023年12月7日

ラクオリア創薬株式会社の連結子会社テムリック株式会社（以下、テムリック社）の導出先である米国Syros Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ SYRS、以下、シロス社）が、テムリック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/TM-411/SY-1425、以下、タミバロテン）について、急性骨髄性白血病（AML）を対象として現在実施中の第 II 相臨床試験の無作為化試験パートにおける初期データを発表した。

（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のαサブタイプ（RARα）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。シロス社は2021年9月から、RARA陽性であり未治療で高齢者など標準化学療法に適さないAML患者を対象として、タミバロテン/ベネトクラクス/アザシチジンの三剤併用療法の第 II 相臨床試験（SELECT-AML-1）を実施している。

今回データが発表された無作為化パート試験は、安全性導入パートに続く2段目のパートとして実施されている。今回の発表においてシロス社は、本試験の主要評価項目である完全奏効率（CR）/不完全血液学的回復を伴う完全奏効率（CRi）が、タミバロテン/ベネトクラクス/アザシチジンの三剤併用療法を受けた奏効評価可能患者（9例中9例）では100%であったのに対し、対照群（ベネトクラクスおよびアザシチジンの二剤併用療法）の患者（10例中7例）では70%であったことのほか、三剤併用療法の安全性に関する初期データも良好な忍容性を示すことを発表した。シロス社はSELECT-AML-1試験の患者登録を継続しており、2024年に試験の最新データを報告する予定である。

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としての開発販売権をシロス社に許諾するライセンス契約を締結し、開発段階に応じたマイルストンおよび販売後のロイヤルティを受けとる権利を保有している。なお同社によれば、本件に伴いテムリック社が受け取る一時金はなく、同社の2023年12月期通期連結業績予想への影響はないものの、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考える。

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

# 胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中国における適応拡大

2023年11月22日

ラクオリア創薬株式会社は、胃酸分泌抑制剤tegoprazanの中国における適応拡大に関して発表した。

（リリースへのリンクはこちら）

同社は、中国におけるサブライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co., Ltd.（002793、SHE、以下、Luoxin社）が、 韓国のHKイノエン社を通じて導出した胃酸分泌抑制剤tegoprazan（中国販売名（登録商標） 泰欣赞®（タイシンザン） 、以下、テゴプラザン）について、 十二指腸潰瘍治療薬としての製造販売承認を中国当局から取得した、と発表した。

中国については、2015年にHKイノエン社とLuoxin社との間で中国におけるテゴプラザンのサブライセンス契約を締結し、開発・製造・販売はLuoxin社により行われている。2022年4月にびらん性胃食道逆流症を適応疾患とする承認を取得後わずか15日でLuoxin社はテゴプラザンの販売を開始し、主要病院、小売薬局、インターネットを通じて販売を行っている。2023年3月には中国の規制当局である国家医療保障局から出された「国家基本医療保険、労働災害保険、出産保険医薬品カタログ（2022年）」（以下、NRDL）に収載され、医療保険の償還対象となった。

今回の適応拡大により、中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と十二指腸潰瘍の2つとなった。同社によれば、十二指腸潰瘍は中国で最も一般的かつ頻度の高い慢性疾患の一つであり、消化性潰瘍の約70%を占める。また、中国ではヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法を適用症とした第3相臨床試験が完了しており、注射剤の開発も進められている。

同社はHKイノエン社とのライセンス契約に基づき、販売後の売上に応じたロイヤルティなどでHKイノエン社が得る収益の一定割合を受け取る権利を有する。本件により同社が受け取る一時金はなく、2023年12月期の通期連結業績への影響はないものの、中国におけるテゴプラザンの適応拡大は今後の売上高増大につながることから、中長期的に事業収益および企業価値の向上に寄与すると同社は考える。

# 胃食道逆流症治療薬tegoprazanのペルーにおける発売開始

2023年10月16日

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

（リリースへのリンクはこちら）

同社は、同社のサブライセンス先企業であるメキシコのLaboratories Carnot（非上場、以下、Carnot社）が、HK inno.N Corporation（KOSDAQ 195940、以下、HKイノエン社）を通じてライセンスした胃食道逆流症治療薬tegoprazan（以下、テゴプラザン）について、ペルーにおいて製品販売を開始した、と発表した。Carnot社がテゴプラザンを製品名「Ki-CAB®」として発売した10月12日は、コロンブスが新大陸アメリカに到達した日としてペルーで記念日とされている。

同社はHKイノエン社との間で、日本を除く全世界の開発・製造・販売に関する再実施許諾権（サブライセンス権）付き独占的ライセンス契約を締結している。2019年に テゴプラザン（韓国販売名「K-CAB®」 ）の 販売を開始した韓国における2022年の韓国国内売上（院内処方実績）は、1,321億ウォン（約13,210百万円、1韓国ウォン0.10円換算）であった。2023年の1月から9月までの累計売上は1,140億ウォン（約11,400百万円、同、前年同期比19%増）と、順調に販売を伸ばしている。HKイノエン社および同社からライセンスを受けた世界各国のサブライセンス先企業によって、テゴプラザンに関する事業活動が進められている。

ペルーについては、2019年にHKイノエン社とCarnot社の間で、ペルーを含む中南米17カ国を対象としたサブライセンス契約が締結され、以後、Carnot社が販売に向けた取り組みを進めていた。2023年7月にはペルーの保健省医薬品・医療消耗品局より、びらん性胃食道逆流症、非びらん性胃食道逆流症、胃潰瘍、およびヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法の4つを適応適応症とする販売承認を取得した。

中南米地域では、2023年5月にCarnot社がメキシコにおいて製品販売を開始している。今回のペルーでの販売開始により、テゴプラザンが販売されている国は、韓国、中国、モンゴル、フィリピン、メキシコ、インドネシア、シンガポールの8カ国となった。このほか29カ国において、臨床開発・承認審査・販売準備に関する取り組みが現在進められている。

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

# その他の情報

## 沿革

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

出所：会社資料よりSR社作成

### 湘南アイパークに研究開発拠点を新設

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

## コーポレートガバナンスおよびトップマネジメント

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

出所：会社資料よりSR社作成

# トップマネジメント

## 代表取締役　武内博文（1971年12月21日生まれ）

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

# コーポレートガバナンス

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

# 配当方針

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

# 大株主

| 大株主の状況 | 所有株式数（千株） | 所有株式数の割合 |
|---|---|---|
| 柿沼　佑一 | 2,385 | 11.03% |
| ファイザー株式会社 | 743 | 3.44% |
| BOFAS INC SEGREGATION ACCOUNT（常任代理人　BOFA証券株式会社） | 630 | 2.91% |
| 上田八木短資株式会社 | 286 | 1.32% |
| 東京短資株式会社 | 270 | 1.25% |
| 株式会社アドバンスト・メディア | 224 | 1.03% |
| 株式会社エス・ビー・シー | 206 | 0.95% |
| 田名後　貴裕 | 180 | 0.83% |
| 植村　幸雄 | 145 | 0.67% |
| 香本　育良 | 137 | 0.63% |
| 計 | 5,207 | 24.06% |

出所：会社資料よりSR社作成（2023年12月31日現在）

# 従業員数

| | 14年12月期 | 15年12月期 | 16年12月期 | 17年12月期 | 18年12月期 | 19年12月期 | 20年12月期 | 21年12月期 | 22年12月期 | 23年12月期 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 連結従業員（人） | 72 | - | - | 60 | 63 | 68 | 70 | 67 | 65 | 67 |
| 単体従業員（人） | 70 | 64 | 50 | 55 | 58 | 62 | 64 | 62 | 62 | 64 |
| 平均年齢（歳） | 43.6 | 44.1 | 44.8 | 45.5 | 45.5 | 46.3 | 47.3 | 46.5 | 47.5 | 46.4 |
| 平均勤続年数（年） | 5.5 | 5.9 | 6.6 | 7.0 | 6.9 | 7.4 | 8.1 | 8.7 | 10.7 | 8.9 |
| 平均年間給与（千円） | 7,971 | 8,124 | 7,242 | 7,391 | 7,408 | 7,237 | 7,510 | 7,369 | 7,033 | 7,264 |

出所：会社資料よりSR社作成

2022年12月期における同社単体の従業員62名のうち、約50名が研究開発に携わっており、10数名がライセンスの導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**

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**

代表電話番号

**052-446-6100**

上場市場

**東証グロース市場**

設立年月日

**2008年2月19日**

上場年月日

**2011年7月20日**

IRコンタクト

**https://www.raqualia.co.jp/contact/**

決算月

**12月**

# 株式会社シェアードリサーチについて

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

## 連絡先


企業正式名称

**株式会社シェアードリサーチ／Shared Research Inc.**

TEL

**+81 (0)3 5834-8787**

住所

**東京都千代田区神田猿楽町2丁目6-10**

Email

**info@sharedresearch.jp**

HP

**https://sharedresearch.jp**


## ディスクレーマー


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