

2021年2月16日

各 位

会 社 名 ラクオリア創薬株式会社
代 表 者 名 代表取締役 谷 直 樹
(コード番号：4579)
問 合 せ 先 取締役 河田 喜一郎
(TEL. 052-446-6100)

中期経営計画の提出等について

当社は2021年12月期～2023年12月期に係る中期経営計画を策定いたしましたので、当該中期経営計画を記載した資料を提出いたします。

なお、当該資料については、当社のホームページに掲載いたします。

U	R	L	https://www.raqualia.co.jp/ir/library.html
掲	載	日	2021年2月16日

【添付資料】

2021年12月期～2023年12月期 中期経営計画

以 上

※将来の事象に係わる記述に関する注意

業績予想につきましては、発表時現在において入手可能な情報に基づき作成したものであり、実際の業績は、今後起こりうる様々な要因によって予想数値と異なる場合があります。

※本資料は、投資者に対する情報提供を目的として事業計画等を記載しており、投資勧誘を目的としたものではありません。

当社の事業計画に対する評価及び投資に対する決定は、投資者ご自身の判断において行われるよう、お願いいたします。



2021～2023年12月期 中期経営計画（Gaia 2021）

2021年2月16日 （東証ジャスダック グロース：4579）

RaQualia Pharma Inc.

Copyright© 2021 RaQualia Pharma Inc. All Rights Reserved

2020年度業績の概要と2021年度業績見通し

(単位：百万円)

【連結】 (単位：百万円)	2019年度 実績	2020年度 期初予想	2020年度 12/28計画	2020年度 実績	増減率 2019年度 /2020年度		2021年度 期初予想	増減率
事業収益	1,702	2,129	852	1,107	-35.0%		2,738	+147.3%
事業費用	1,718	2,059	1,605	1,593	-7.3%		2,317	+45.4%
(内) 人件費	616	705	667	666	+8.1%		712	+6.9%
(内) 研究開発費	221	196	246	239	+8.1%		556	+132.6%
営業利益又は 営業損失 (△)	△15	70	△753	△486	—		420	—
経常利益又は 経常損失 (△)	21	85	△759	△527	—		427	—
親会社株主に帰属する 当期純利益又は親会社 に帰属する当期純損失 (△)	5	13	△843	△606	—		343	—

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

目次

2020年12月期 事業ハイライト
2020年12月期 上市品の動向
2021年12月期 業績予想と主なイベント

中期経営計画 「Gaia2021」

2020年12月期の振り返り（詳細）

その他

2020年12月期 事業ハイライト
2020年12月期 上市品の動向
2021年12月期 業績予想と主なイベント

2020年12月期 事業ハイライト（1）

- tegoprazan** **韓国** 院外処方売上高は前期比2.8倍の725億ウォン
 中国 新薬承認申請中
 米国 新薬臨床試験開始届提出、フェーズ1準備中
 アジア フィリピン、モンゴル、シンガポール サブライセンス契約締結
- GALLIPRANT®** **米国** 販売堅調、新型コロナ問題で伸び悩む、**欧州** 販売好調
- ENTYCE®（犬）** **米国** 着実に進捗
- ELURA®（猫）** **米国** 新薬販売承認を取得

共同研究案件：新規＝長崎大学（新型コロナウイルス感染症治療薬）
 進捗＝あすか製薬（特定のイオンチャネル）マイルストーン達成

学会発表：シロス社がタミバロテンとアザチシチンの併用第Ⅱ相臨床試験
 に関する新データを発表、良好な内容

産学連携：岐阜薬科大学と基本協定書を締結、連携強化へ

2020年12月期 上市品の動向

新型コロナウイルス感染症の世界的大流行が業績にマイナスの影響

- ✓ 新型コロナウイルス感染症の感染拡大
 - 物流・製品供給に一時的な影響
 - 在庫調整
 - 導出等の事業開発活動で支障

GALLIPRANT®

- ✓ 米国 : 第1四半期は新型コロナウイルス感染症や在庫圧縮等の影響で売上が伸び悩む
第2四半期以降は回復基調
- ✓ 欧州他 : 好調に推移、第4四半期に日本販売開始

ENTYCE®

- ✓ 米国 : 第一四半期は新型コロナウイルス感染症や在庫圧縮等の影響が出るも堅調
第2四半期以降は順調

K-CAB®

- ✓ 韓国 : 院外処方伸長を継続
第1四半期は新型コロナウイルス感染症の影響で一時的な物流混乱や在庫調整も

2020年12月期 連結損益計算書

(単位：百万円)

【連結】	2019年12月期 (前期)	2020年12月期 (当期)	増減
事業収益	1,702	1,107	-35.0%
事業費用及び事業原価	1,718	1,593	-7.3%
営業損失 (△)	△15	△486	—
経常利益又は経常損失 (△)	21	△527	—
親会社株主に帰属する当期純利益又は 親会社株主に帰属する当期純損失 (△)	5	△606	—

2021年12月期 業績予想

(単位：百万円)

【連結】	2020年12月期 (実績)	2021年12月期 (計画)	増減
事業収益	1,107	<u>2,738</u>	147.3%
事業費用及び事業原価	1,593	<u>2,317</u>	45.4%
営業利益又は営業損失 (△)	△486	<u>420</u>	—
経常利益又は経常損失 (△)	△527	<u>427</u>	—
親会社株主に帰属する当期純利益又は 親会社株主に帰属する当期純損失 (△)	△606	<u>343</u>	—

トピックス

- 事業収益につきましては、上市3品の販売ロイヤルティ収入が連結売上高に大きく寄与していくものと見込んでおります。
 - 連結売上高に占める販売ロイヤルティ収入の構成比は約47%となる見通しです。このうちヒト用医薬品が約半分、ペット用医薬品が約半分と想定しております。ヒト用医薬品は、韓国における販売が一段と拡大すると見込んでおります。ペット用医薬品は、犬の骨関節炎治療薬「GALLIPRANT®」が販売地域・国をさらに広げるとみているほか、慢性腎疾患の猫の体重減少管理の薬「ELURA®」が米国において販売を開始すると想定しております。
 - 契約関連の収入等については、P2X7受容体拮抗薬関連、ペット用医薬品capromorelin関連を見込んでいます。
- 事業費用につきましては、研究基盤の拡充と委託試験等の研究開発費の増加を見込んでおります。

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

2021年12月期 主なイベント(1)

■ tegoprazan : 韓国での販売は好調持続、開発も進捗

- HKイノエン社（韓国）によるtegoprazan（韓国商品名：『K-CAB®』）の韓国における販売は一段と拡大へ。
同社常務のウォン・スンチャン氏は2020年12月29日開催の2020大韓民国バイオ投資コンファレンス（KBIC2020）で「K-CAB®が向こう2～3年以内に2000億～3000億ウォン台の売り上げを上げることが期待している」と言及。
- 中国においては2021年中に新薬承認を取得し、2022年上半期に上市する見通し。Shandong Luoxin Pharmaceutical Group（中国：以下「Luoxin社（中国）」）が2020年に当局に新薬承認申請済み。
- 米国においては第Ⅰ相臨床試験を開始する見通し。
- 日本においては第Ⅱ相臨床試験の実施に向け、当社とHKイノエン社（韓国）との協力関係の築き方等を含め、あらゆる可能性について検討中。
- HKイノエン社（韓国）がROW(Rest Of World)などでサブライセンス先を開拓、締結へ。

■ ペット用医薬品は堅調に推移

- grapiprant（一般名）：Elanco Animal Health Inc.（米国、以下「エランコ社（米国）」）による犬の骨関節炎治療薬「GALLIPRANT®」の米国・欧州販売は順調に拡大。販売地域はさらに拡大する見込み。
- capromorelin（一般名）：エランコ社（米国）による犬の食欲不振症治療薬「ENTYCE®」の米国販売は着実な歩み。
慢性腎疾患の猫の体重減少管理の薬「ELURA®」は米国で上市へ。

2021年12月期 主なイベント(2)

■ シロス社（米国）によるタミバロテンの開発が新しいステージに移行へ

- Syros Pharmaceutical, Inc.（米国、以下「シロス社（米国）」）が骨髄異形成症候群（MDS）を適応とする第Ⅲ相臨床試験を2021年第1四半期に開始。
- 急性骨髄性白血病（AML）の未治療および再発・難治の患者様を対象とするベネトクラクス（アツヴィ）、アザシチジン（ブリストル・マイヤーズ スクイブ）との3剤併用第Ⅱ相臨床試験を2021年下半年期に開始へ。

■ 当社コア・コンピタンスのさらなる強化

- イオンチャネル創薬のさらなる進展。製薬企業との新たな共同研究を模索。
- 継続的な知的財産の強化。ライフサイクルマネジメント（LCM）戦略を推進。

2021年12月期 主なイベント(3)

■ 提携先での臨床開発の進展

- P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479/AK-1780) は、旭化成ファーマがイーライリリー・アンド・カンパニー (以下「リリー社 (米国)」) との間で全世界を対象としたライセンス契約を締結。今後のグローバル開発はリリー社が主導へ。
- EAファーマ社との共同研究から創出されたイオンチャネルを標的とした化合物 (化合物コード非開示) は、EAファーマ社における臨床開発が順調。
- 選択的ナトリウムチャネル遮断薬 (化合物コード非開示) は、マルホ社における開発が順調。
- あすか製薬社との特定のイオンチャネルを標的とした共同研究は順調に進捗。イオンチャネルを標的とした新たなスクリーニング系を構築中。

■ その他

- 米国支店 (US BRANCH)はWeb会議等を活用し活動を積極化、現地のアカデミアや、製薬企業・バイオベンチャーとの協業を目指し、情報収集活動を強化。
- 新市場区分の選択では「グロース市場」 (仮称) を選択予定。

中期経営計画 「Gaia2021」

- ・ 概要および策定の背景
- ・ 数値目標
- ・ 費用の概要
- ・ 人員計画
- ・ 資金調達戦略

中期経営計画『Gaia』の概要および策定の背景

【中期経営計画の基本方針】

■ 当社ビジョンの実現

「私たちは創薬を通じて健康と幸せに貢献し、人々の心に陽をもたらします」

■ 経営の安定化と株主価値向上に向けたより具体的な施策の提示と実行

■ 地母神「Gaia」のような創造力で「グローバル」規模の進化を目指す

【中期経営計画の骨子】

➤ 早期導出を目指した創薬研究プラットフォームの構築・強化

- ・ 産学官連携を中心とした画期的な創薬共同研究の継続と強化
- ・ 自社評価系による継続的な新規開発化合物の創出

➤ ヒト向け医薬品の上市と効率的な導出体制の構築

- ・ 既存パイプラインの早期導出に向けた効率的な導出体制の構築・強化
- ・ パートナー企業との連携・協業を通じた信頼関係の構築とロイヤルティ収入の獲得

➤ 海外展開の加速

- ・ 製薬企業等のイノベーション・エコシステムが構築されている米国カリフォルニア州サンディエゴ市に米国支店を設立、現地のアカデミアや、製薬企業・バイオベンチャーとの良好な関係構築に向け活動を本格化

中期経営計画 「Gaia2021」の概要と数値目標

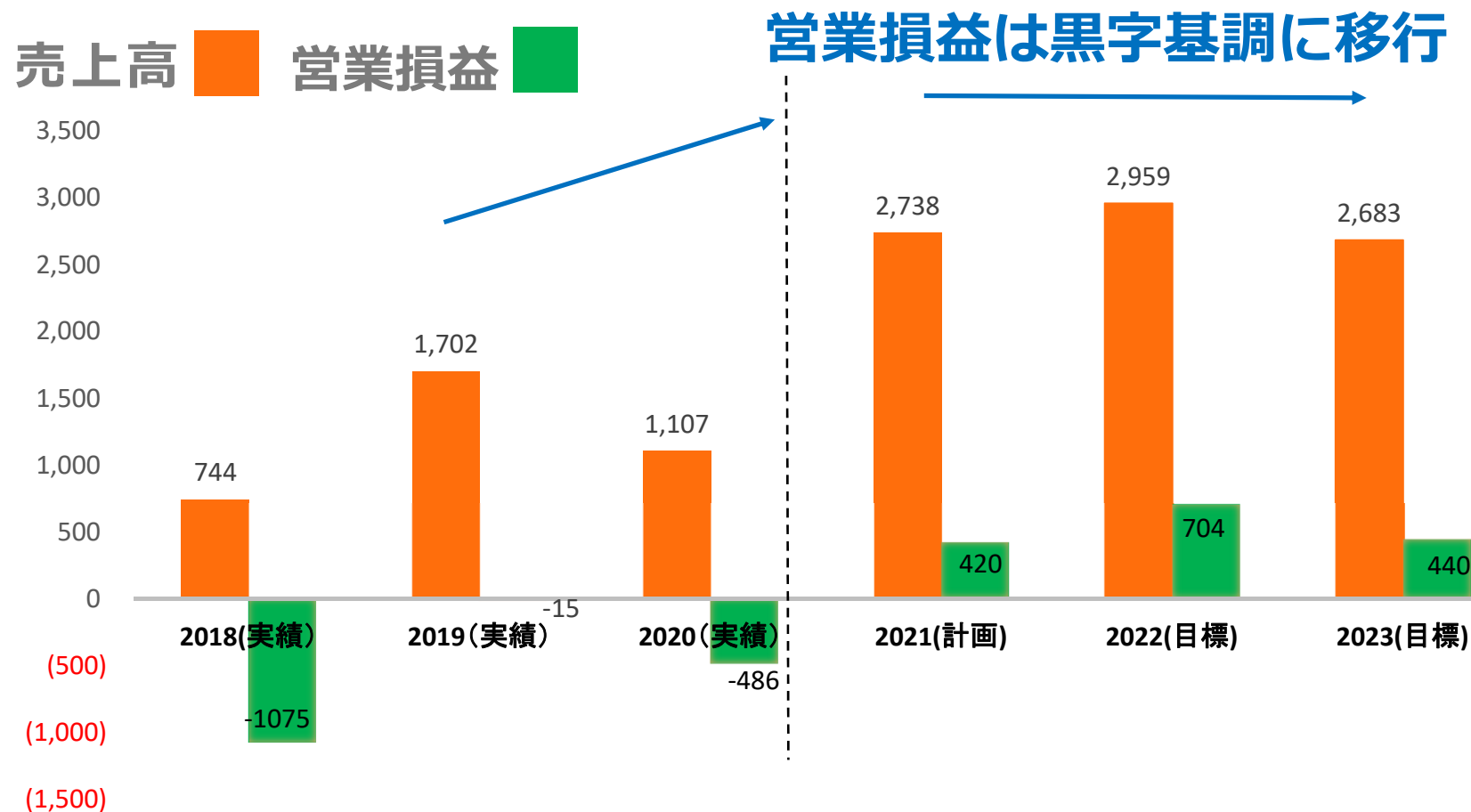
(単位：百万円)

【連結】	2019年12月期 (実績)	2020年12月期 (実績)	2021年12月期 (計画)	2022年12月期 (目標)	2023年12月期 (目標)
事業収益	1,702	1,107	<u>2,738</u>	<u>2,959</u>	<u>2,683</u>
事業費用	1,718	1,593	<u>2,317</u>	<u>2,255</u>	<u>2,242</u>
（内）人件費	616	666	<u>712</u>	<u>743</u>	<u>762</u>
（内）研究開発費	221	239	<u>556</u>	<u>576</u>	<u>588</u>
営業利益又は 営業損失（△）	△15	△486	<u>420</u>	<u>704</u>	<u>440</u>
経常利益又は 経常損失（△）	21	△527	<u>427</u>	<u>719</u>	<u>445</u>
親会社株主に帰属する 当期純利益又は親会社株主に 帰属する当期純損失（△）	5	△606	<u>343</u>	<u>610</u>	<u>320</u>
為替（米ドル/日本円）	109.55	103.52	<u>105.00</u>	<u>105.00</u>	<u>105.00</u>

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

売上高と営業損益の推移

(単位：百万円)



ロイヤルティ収入による事業安定化フェーズへの移行へ

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

費用の概要

(単位：百万円)

【連結】	2019年12月期 (実績)	2020年12月期 (実績)	2021年12月期 (計画)	2022年12月期 (目標)	2023年12月期 (目標)
①事業原価	262	138	340	221	236
②事業費用	1,456	1,455	1,977	2,033	2,006
(内) 人件費	616	666	712	743	762
(内) 研究開発費	221	239	556	576	588
(内) 管理統制費	236	206	289	267	253
(内) 施設関連費	221	216	269	262	243
(内) その他	162	128	151	185	160
合計 (① + ②)	1,718	1,593	2,317	2,255	2,242

**2021年
12月期**

人件費は増額。創薬基盤の拡充に加え、開発を加速させるための人員を採用。研究開発費は自社プログラムの開発を進捗させるための委託試験費が増加する見通し。

**2022年
12月期**

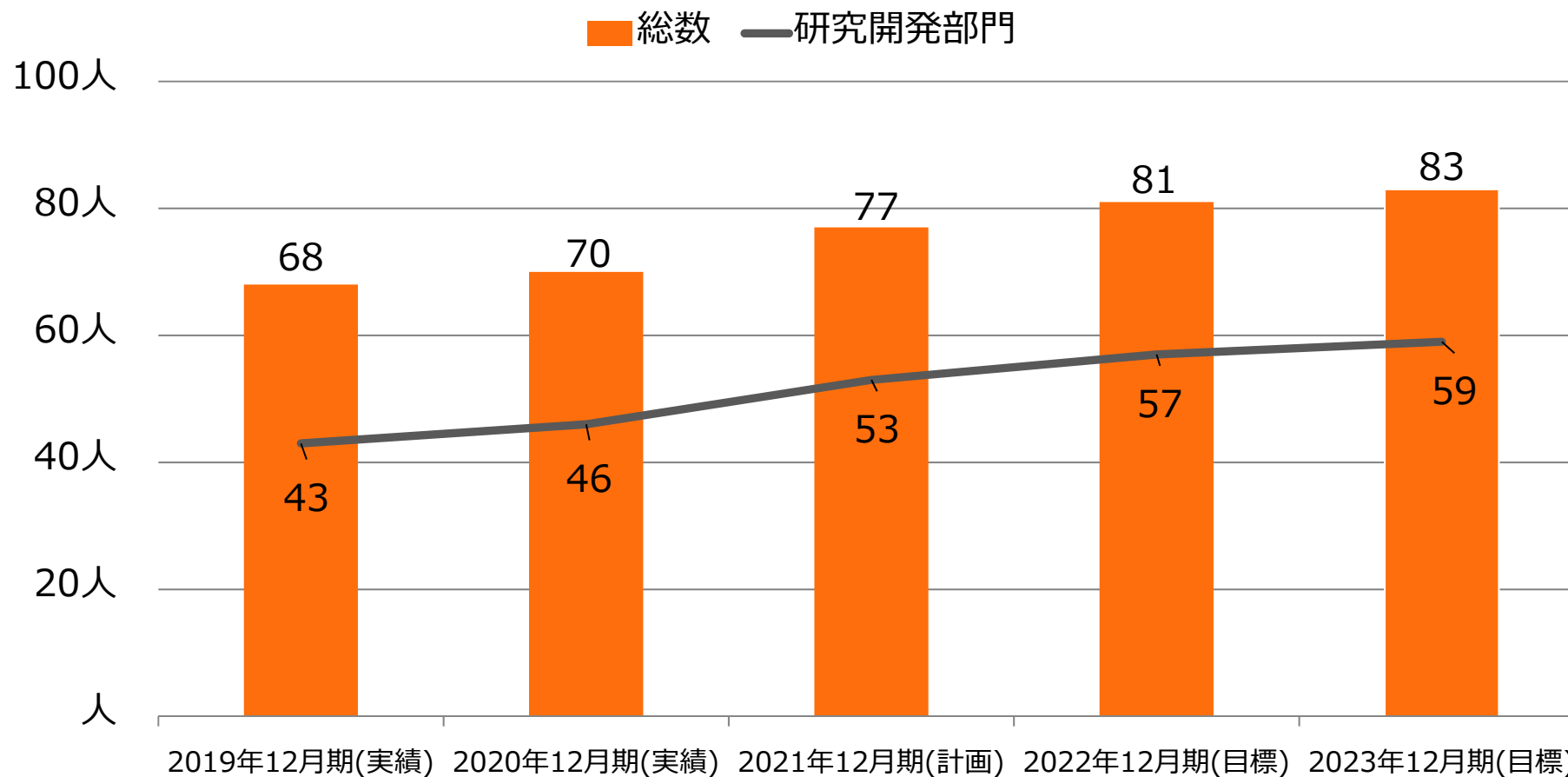
人件費は増額。創薬基盤の拡充に加え、開発を加速させるための人員を採用。研究開発費の増加傾向は一巡、効率的な配分を計画。

**2023年
12月期**

人件費の増額は一巡。開発を加速させるための実践的人材育成にシフト。研究開発費は減少へ。

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

人員計画



※ 当社連結、休職者、臨時職員等除く

資金調達戦略

■基本方針

- 収益構造の割合がより安定的なロイヤルティ収入にシフトしたことを受け、営業キャッシュフローの黒字化を目指す。
- 運転資金は事業収益からの資金収入と事業費用圧縮効果により調達し、各年度の期末資金残高は30億円を維持する。
- 余剰資金および新たに調達する資金は、創薬加速化のための探索研究費、既存プログラムの価値を向上させるための研究開発費、新たなモダリティ・疾患領域の開拓に充当する。
- 追加の資金調達は、市場から理解を得られる明確なEquity Storyと株主価値向上に根ざしたものとして市場に提示し、実行する。

■実績（現預金、投資有価証券等）

- 2020年度末の資金残高実績（約32億円）

■資金調達方法

- 第三者割当増資（安定株主発掘のための戦略的パートナーとの資本・業務提携）
- グローバルオフアリングの検討
- 保有資産の有効利用
- 企業成長ステージの変化によるDebt（間接金融）の検討

■その他の事項

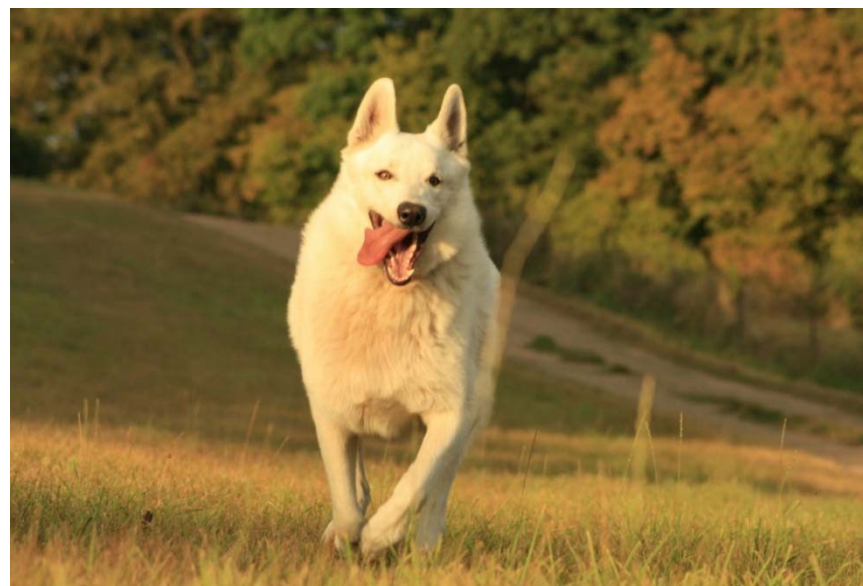
- アナリストカバレッジとIR体制の強化
- 海外/国内の機関投資家の発掘
- 個人投資家説明会の実施

2020年12月期の振り返り（詳細）

- 1) ペット用医薬品
- 2) tegoprazan
- 3) イオンチャネル創薬
- 4) テムリック株式会社「タミバロテン」

1) ペット用医薬品 : GALLIPRANT®

Galliprant®
(grapiprant tablets)



適応症	犬の骨関節炎（慢性炎症性疼痛）
販売元	エランコ社（米国）
参考情報	非ステロイド性消炎鎮痛剤（NSAIDs）でのリーディングブランド

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

1) ペット用医薬品 : GALLIPRANT®

2020年10月 日本でも販売開始

エランコジャパン株式会社（本社：東京都港区）が、「ガリプラント」を、犬の慢性骨関節炎のEP4選択的拮抗薬・消炎鎮痛剤として、日本における販売を開始。



ガリプラント
(グラビプラント)

**新しいミカタ！
犬の骨関節炎治療**

First-in-class^{1,2,4}
世界初 ピプラント系消炎鎮痛剤、
プロスタグランジン受容体・EP4選択的拮抗薬

全く新しい作用機序^{3,4}
痛みと炎症にターゲットを絞り、消化器、腎臓、
肝臓への影響を軽減

9カ月の長期安全性⁵
常用量の約15倍量まで連続投与安全性試験を実施*

Coming Soon

動物用医薬品 | 要指示医薬品 | 指定医薬品

EP4選択的拮抗薬・消炎鎮痛剤
ガリプラント錠 20mg
60mg
(グラビプラント)

Elanco

*ただし、臨床適用最大量（ガリプラント[®]錠を2.9 mg/kgで投与した場合）に対して10.3倍に相当する。

1) ペット用医薬品 : ENTYCE®

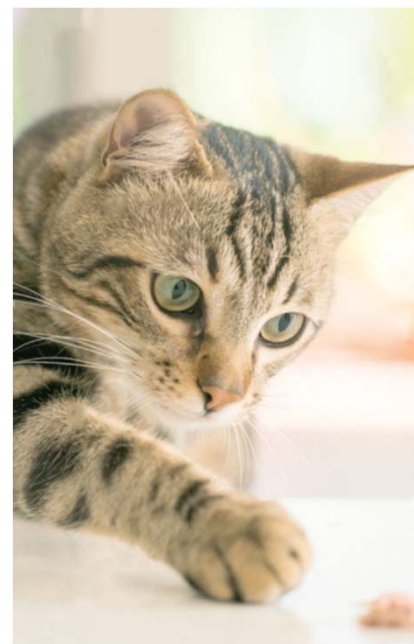
entyce®
(capromorelin oral solution)



適応症	犬の食欲不振症（体重減少）
販売元	エランコ社（米国）
参考情報	米国における売上は堅調に推移

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

1) ペット用医薬品 : ELURA®

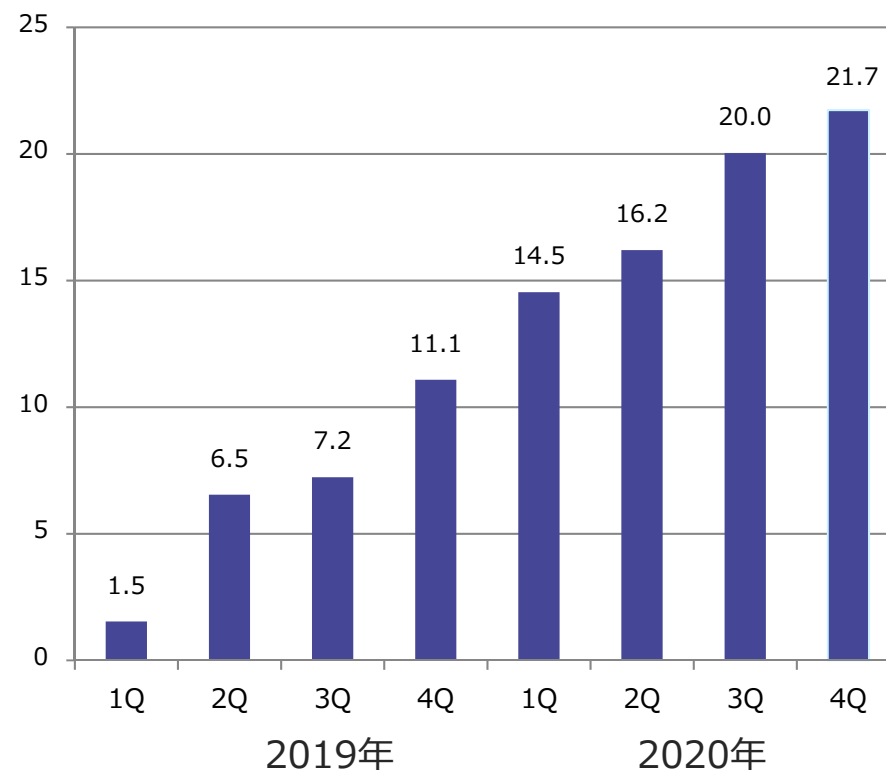


適応症	慢性腎疾患の猫の体重減少管理
販売元	エランコ社（米国）
参考情報	2020年10月、米国当局から承認を取得。 エランコ社（米国）によると、2021年上市予定

2) tegoprazan : 韓国「K-CAB®」の院外処方売上は拡大

「K-CAB®」韓国での売上高 四半期ベース

販売用パンフレット



院外処方データ (billion won)
出典：UBISTデータ

2) tegoprazan : 中国で新薬承認申請済み、審査中

■ サブライセンス先

- Luoxin社 (中国)

■ 2020年12月期における進捗

- びらん性胃食道逆流症を目標適応症として当局に新薬承認申請。その後、当局から**申請受理通知を受領**。
- 非びらん性胃食道逆流症の臨床試験が進行中
- 十二指腸潰瘍の臨床試験を検討中



2) tegoprazan : 日本 第Ⅱ相臨床試験の実施に向け協議中

■ 2015年 第Ⅰ相臨床試験終了

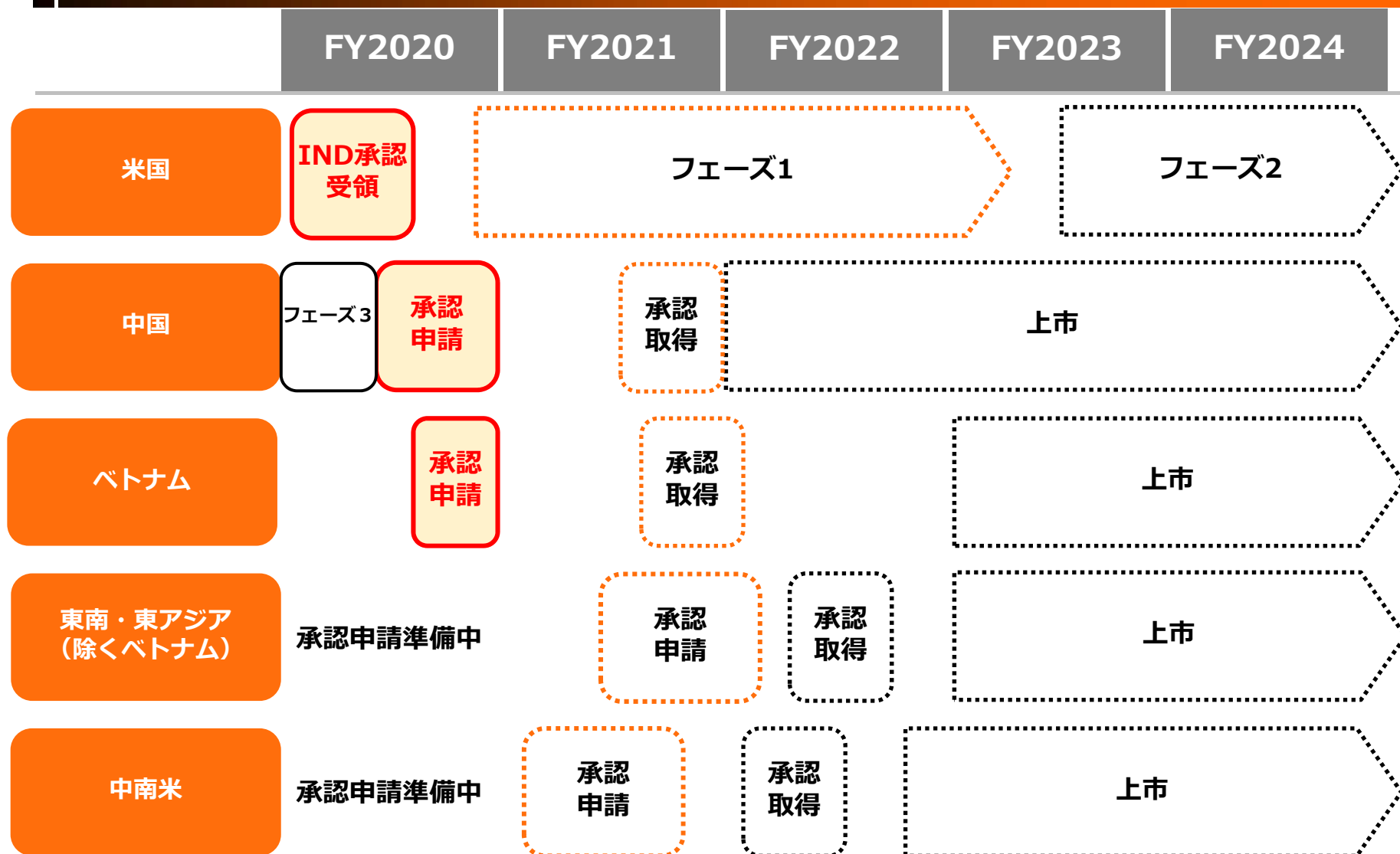
- 第Ⅱ相臨床試験の実施について、HKイノベーション社（韓国）との協力関係の築き方等を含め、あらゆる可能性について検討中



2) tegoprazan : グローバル開発

ロードマップ

提出日現在



 は、2020年12月期に進展があったプログラム

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

3) イオンチャネル創薬：プログラム別の状況

会社名	内容	
旭化成ファーマ株式会社	P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479/AK1780) リリー社 (米国) がグローバル開発を主導へ	2021年1月 旭化成ファーマとリリー社(米国) がライセンス契約締結
マルホ株式会社	選択的ナトリウムチャネル遮断薬 現在、同社にて開発中	2017年12月 ライセンス契約締結
E Aファーマ株式会社	消化器領域における特定のイオンチャネル 現在、同社にて開発中	2019年9月 マイルストーン達成
あすか製薬株式会社	特定のイオンチャネルを標的とした共同研究 現在、新たなスクリーニング系を構築中	2020年11月 マイルストーン達成

3) イオンチャネル創薬：P2X7受容体拮抗薬 (RQ-00466479)

2021年1月

旭化成ファーマとリリー社（米国）との間でRQ-0466479/
AK1780に関するライセンス契約を締結



旭化成ファーマ

リリー社

- リリー社（米国）がグローバル開発を主導へ
- 旭化成ファーマからは一時金に加え、RQ-00466479/AK1780の商業化に成功した場合、当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リティーを受領

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

4) テムリック株式会社：タミバロテンの状況

- シロス社(米国)が米国において複数の適応症で開発を推進
- 大原薬品工業が日本において神経芽腫（NB）の適応症で開発を推進

【血液腫瘍】

骨髄異形成症候群（MDS : myelodysplastic syndrome）：タミバロテンとアザシチジン(ブリストル・マイヤーズ スクイブ)の併用療法、RARA陽性未治療高リスクMDS(HR-MDS)を適応とする第III相臨床試験を2021年第1四半期にも開始。2024年の新薬承認申請を目指す。

急性骨髄性白血病（AML : acute myeloid leukemia）：タミバロテン、アザシチジン、ベネトクラクス（アツヴィ）の3剤併用療法、既存の標準化学療法では治療が困難な未治療AML（未治療 unfit AML）を適応とする第II相臨床試験を2021年下半年期に開始予定。

【固形腫瘍】

神経芽腫（NB : neuroblastoma）：Epigenetic作用薬との併用により、POCを確立し、新薬承認を目指す。

【その他】 バイオマーカーライセンス：

テムリックはシロス社（米国）とアジア地域（日本・中国含む）を対象とするバイオマーカーライセンス契約を締結

タミバロテンの治療効果が期待されるRARA陽性患者を予め選別するバイオマーカーの特許やノウハウの使用が可能に。

4) テムリック株式会社：タミバロテンに関する学会発表 (ASH2020)

タミバロテン・アザシチジンはバイオマーカー陽性AML患者で高い完全寛解率・即効性を示す

Best IWG response	RARA positive n (%)
Response Evaluable	18
ORR	12 (67)
CR/CRi	11 (61)
CR	9 (50)
CRm	4 (22)
CRc	4 (22)
CRi	2 (11)
MLFS	1 (6)
PR	0 (0)

- RARA陽性患者で61%の完全寛解率(CR及び血球数の回復を伴わない完全寛解CRiを含む)を示した。
- CR50% (18例中9例) の内訳は分子学的CR及び細胞学的CRの両者併せて89%(9例中8例であった)。
- 最初の奏功までの期間の中央値は1.2か月、奏功期間中央値は10.8か月、CR/CRi達成患者の全生存期間OSの中央値は18か月でした。
- 投与前には輸血依存性だった患者の86%が治療後輸血非依存性となった。

https://d1io3yog0oux5.cloudfront.net/_5a6188dc7529e7f60da372689e285f0f/syros/db/353/2342/pdf/SY-1425+ND+Unfit+AML+ASH+2020+FINAL+.pdf

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

Copyright© 2021 RaQualia Pharma Inc. All Rights Reserved

4) テムリック株式会社：タミバロテンの優位性と市場性

タミバロテンの優れたデータと明確な目標

強いターゲット患者選別根拠
~30% のAML、MDS患者がRARA陽性

AMLにおけるタミバロテン/アザシチジンの高い臨床効果

骨髄抑制が少なく忍容性が高い

RARAバイオマーカーは標準療法 ベネトクラクス/アザシチジン 不応性患者の特定にも有用

MDSはAMLと似ている

フェーズ3試験 Aza併用
未治療高リスク
MDS

フェーズ2試験 Ven/Aza併用
未治療 unfit
AML

未治療 HR-MDSの市場規模

- ✓ 米国・欧州における新規患者数は年15,000人程度
- ✓ 市場規模10億ドルになると期待
- ✓ 10年間、新たに承認された治療法はない
- ✓ 既存のオプションでは限られた効果

未治療 unfit AMLの市場規模

- ✓ 米国・欧州における新規患者数は年18,000人以上
- ✓ 市場規模20億ドルになると期待
- ✓ ~1/3の患者は標準療法 ven / azaに反応せず、予後不良

4) テムリック株式会社：MDSに対するタミバロテンの強い可能性

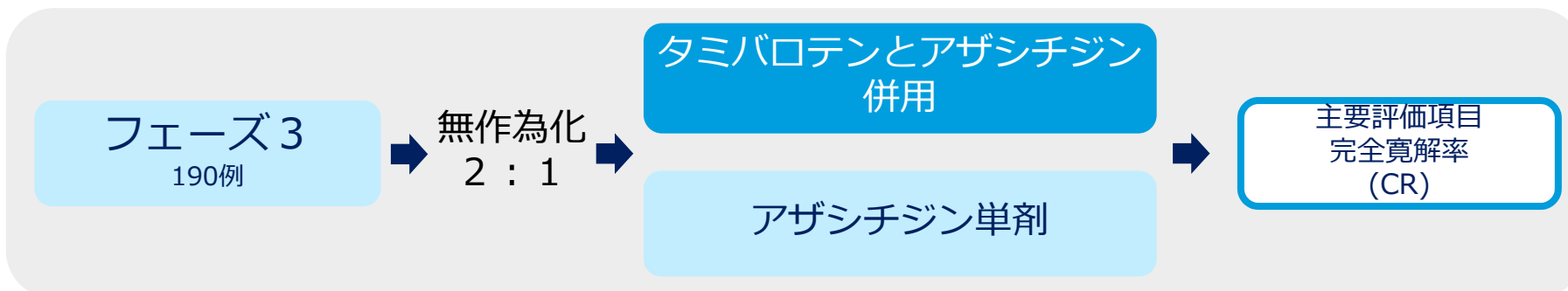
未治療高リスクMDSはタミバロテン/アザシチジン併用の理想的な対象である

SyrosのデータはMDSに対するタミバロテンの強い可能性を示している

1. AMLとMDSは非常に似ている。その違いといえば骨髄中の芽球数で、MDSでは少し芽球数が少ない。歴史的治療法において、アザシチジン等脱メチル化剤の臨床効果を見た場合にAMLとHR-MDSは同じ動きをすることが分かっており、ASHでのAMLの成績は本併用療法がHR-MDS治療にも期待できると考えられた。
2. 今回のASHで発表されたフェーズ2試験において、RARA陽性のいわゆる低芽球性AML患者に絞って解析を行ったところ、CR率は67%であった。この低芽球性AMLにおける成績はHR-MDSの潜在的有効性の指標とされている。
3. 加えて本併用療法は血球減少の副作用が少ない。HR-MDSにとって血球減少症は致命的であり、その点忍容性の高い本併用療法は抗HR-MDS薬として有望。
4. 単剤のタミバロテンは過去実施したRARA陽性のR/R HR-MDSに対して骨髄CR、血液学的改善作用など有望な成績が認められている。

4) テムリック株式会社：タミバロテン新臨床試験計画

MDS (RARA陽性未治療高リスクMDS) 臨床試験計画

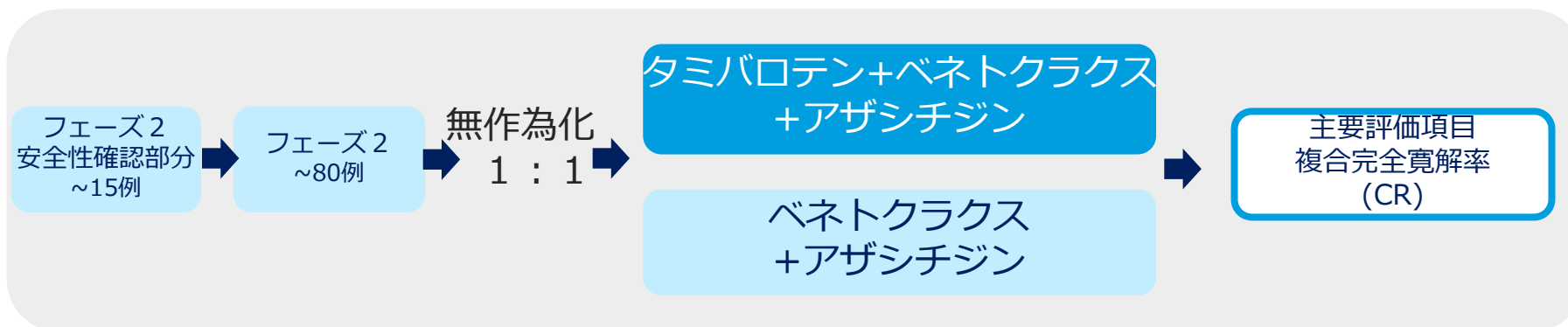


FDAのフィードバックを経て臨床試験計画策定

Key Milestones

治験登録開始	2021年第1四半期
potential NDA	2024年

AML (unfit未治療AML臨床試験計画)



Key Milestones

初期フェーズ2開始/安全性導入	2021年下半期
フェーズ2初期データ	2022年

その他

- ・ 主な導出済みプログラム（ヒト）
- ・ 導出準備プログラム
- ・ 特許関連ニュース
- ・ 産学官連携

主な導出済みプログラム (ヒト)

プロジェクト	化合物 (一般名)	導出先	主適応症	探索	前臨床	臨床試験			申請	承認	販売
						フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3			
ジブラシドン	RQ-00000003	Meiji Seika ファルマ社	統合失調症	○	○	○	○	●			
EP4拮抗薬	RQ-00000007 (grapiprant) RQ-00000008	AskAt社	がん	○	○	●					
				○	○	●					
			疼痛	○	○	○	●				
				○	○	●					
COX-2阻害薬	RQ-00317076	AskAt社	疼痛	○	○	○	●				
				○	○	●					

● は、2020年12月期に進捗があったプログラム

導出準備プログラム

- カリウムイオン競合型アシッドブロッカー：P-CAB (tegoprazan/RQ-00000004) は、フェーズ1の治験総括報告書 作成完了 (2016年12月)
- 5-HT₄部分作動薬 (RQ-00000010) は、フェーズ1の治験総括報告書作成完了 (2017年10月)
- 5-HT_{2B}拮抗薬 (RQ-00310941) は、フェーズ1の治験総括報告書作成完了 (2018年4月)
- モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894) は、前臨床試験が終了、フェーズ1の検討中
- グレリン受容体作動薬 (RQ-00433412) は、**前臨床試験を開始するために必要な原薬製造に着手**
- TRPM8遮断薬 (RQ-00434739) は、前臨床試験の検討中

プロジェクト	化合物	主適応症	臨床試験						実施地域	
			探索	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請		承認
カリウムイオン競合型アシッドブロッカー (P-CAB)	RQ-00000004 (tegoprazan)	胃食道逆流症 (GERD)	○	○	●					日本
5-HT ₄ 部分作動薬	RQ-00000010	胃不全麻痺 機能性胃腸症 慢性便秘	○	○	●					英国
5-HT _{2B} 拮抗薬	RQ-00310941	下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)	○	○	●					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	○	●	○					日本
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	●	○						日本
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	神経障害性疼痛 (化学療法起因性冷アロディニア)	●	○						日本

赤字、○は、2020年12月期に進捗があったプログラム

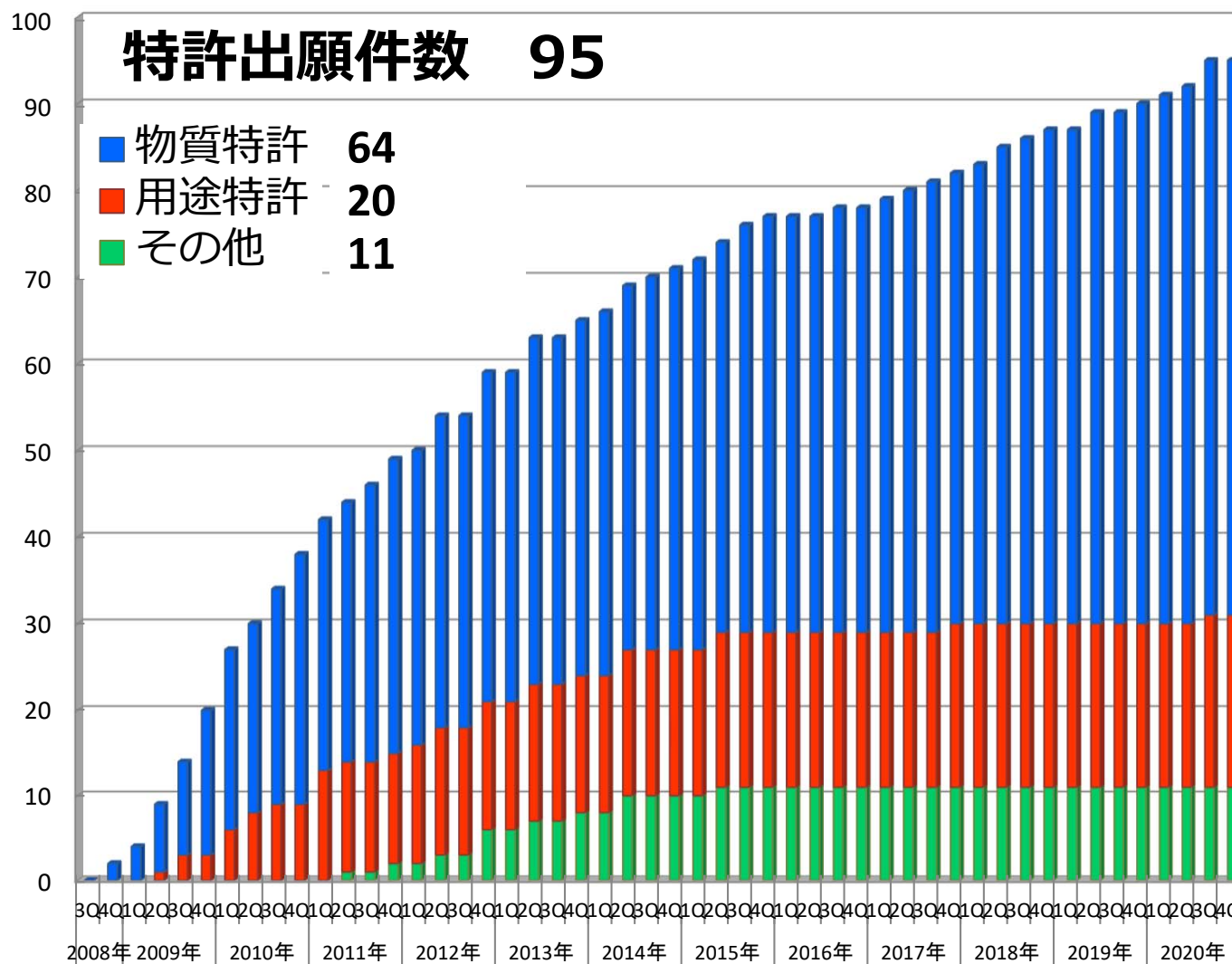
ご注意：本資料は投資勧誘を目的に作成されたものではありません。投資を行われる際には投資家ご自身で判断していただくようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

特許関連ニュース

日付	対象	地域	内容
2020年12月22日	P2X7受容体拮抗薬 (テトラヒドロキノリン誘導体)	日本	物質特許
2020年9月17日	Nav1.7およびNav1.8ナトリウムチャンネル遮断薬 (アミド誘導体)	欧州	物質特許
2020年6月10日	選択的TRPM8遮断薬 (アザスピロ誘導体)	欧州	物質特許
2020年6月2日	5-HT ₄ 部分作動薬に関する用途	日本	用途特許
2020年3月26日	選択的ナトリウムチャンネル遮断薬 (アリアルアミド誘導体)	中国	物質特許
2020年3月5日	選択的ナトリウムチャンネル遮断薬 (ピラゾロピリジン誘導体)	韓国	物質特許
2020年3月3日	選択的ナトリウムチャンネル遮断薬 (ピロロピリジノン誘導体)	韓国	物質特許
2020年1月7日	5-HT ₄ 部分作動薬に関する用途	欧州	用途特許

特許出願状況

(各国移行件数を除く)



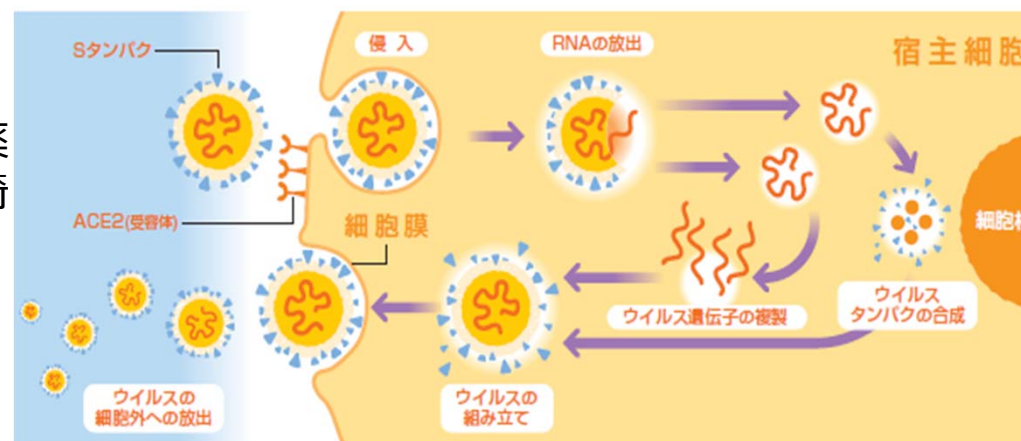
ご注意：本資料は投資勧誘を目的に作成されたものではありません。投資を行われる際には投資家ご自身で判断していただくようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照ください。

産学官連携の状況

2020年9月 長崎大学と共同研究開始

新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）の増殖を強力に阻害する低分子治療薬の創出を目指して、国立大学法人長崎大学（感染症共同研究拠点/熱帯医学研究所:安田二郎教授および櫻井康晃助教）と2020年9月に共同研究を開始しました。

現在、鋭意研究に取り組んでおります。



産学官連携の状況

2020年10月 岐阜薬科大学と産学連携に 関する基本協定書締結

目的：両者の研究能力及び人材を活かし、連携・協力を推進することによって、東海地区発の創薬開発推進構想の具現化と有為な人材の育成に資すること。

2021年4月を目途に岐阜薬科大学に共同研究講座の設置を目指す。



2020年10月22日：岐阜薬科大学に於いて
岐阜薬科大学 稲垣隆司学長と当社代表取締役の谷直樹
【岐阜薬科大学庶務会計課撮影】

産学官連携の状況

難治性神経芽腫の治療薬の開発を目的とした特定の酵素の選択的阻害剤の探索（2015年5月）

名古屋大学大学院医学系研究科生物化学講座分子生物学（門松 健治 教授）

心不全治療薬の開発を目的とした特定タンパク質に対する選択的阻害剤の探索（2015年10月）

名古屋大学大学院医学系研究科循環器内科学（竹藤 幹人 助教）

網膜静脈閉塞症（RVO）治療薬の探索（2019年5月）

岐阜薬科大学学生体機能解析学大講座薬効解析学研究室（原 英彰 教授）

筋委縮性側策硬化症（ALS）の新規治療薬の創出に向けた初期探索研究（2019年7月）

名古屋市立大学薬学系研究科病態生化学分野（築地 仁美 講師）

マクロライド耐性型A群レンサ球菌に対する新規治療薬開発（2019年12月）

名古屋市立大学医学系研究科細菌学分野（長谷川 忠男 教授）

新型コロナウイルス感染症に対する新規治療薬開発（2020年9月）

長崎大学感染症共同研究拠点/熱帯医学研究所（安田 二郎 教授、櫻井 康晃 助教）

将来の見通しに関する注意事項

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



RaQualia
innovators for life

お問合せ先

E-mail : 当社HPからお願いいたします。

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

RaQualia Pharma Inc.

appendix

会社概要

提出日現在

社名

ラクオリア創薬株式会社

代表取締役

谷 直樹

事業内容

医薬品の研究開発、医薬品及び臨床開発候補品に関わる基盤技術の知的財産の販売及び使用許諾

従業員

71名

設立

2008年2月19日

資本金

22億5,540万円

発行株式総数

20,950,142株

本社



名古屋駅

名古屋大学

創薬研究部門



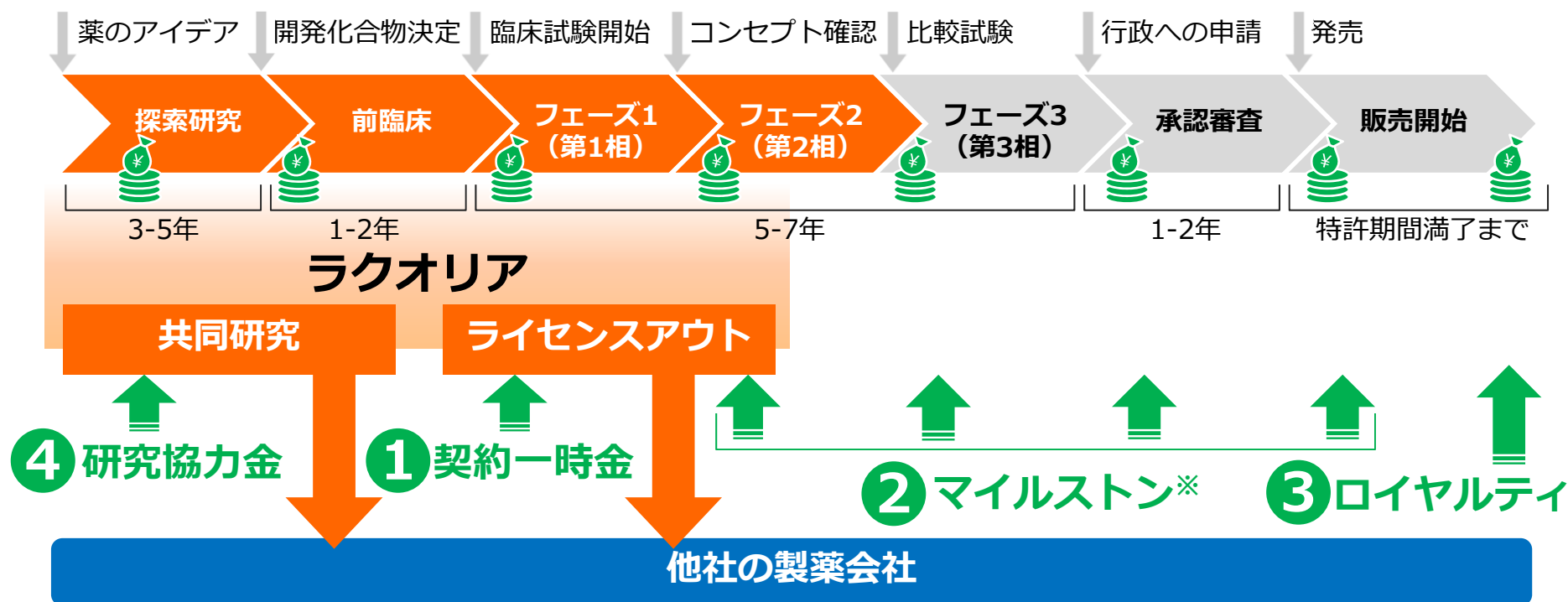
ラクオリア創薬の歩みと今後の成長



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

事業領域とビジネスモデル

ビジネスモデル

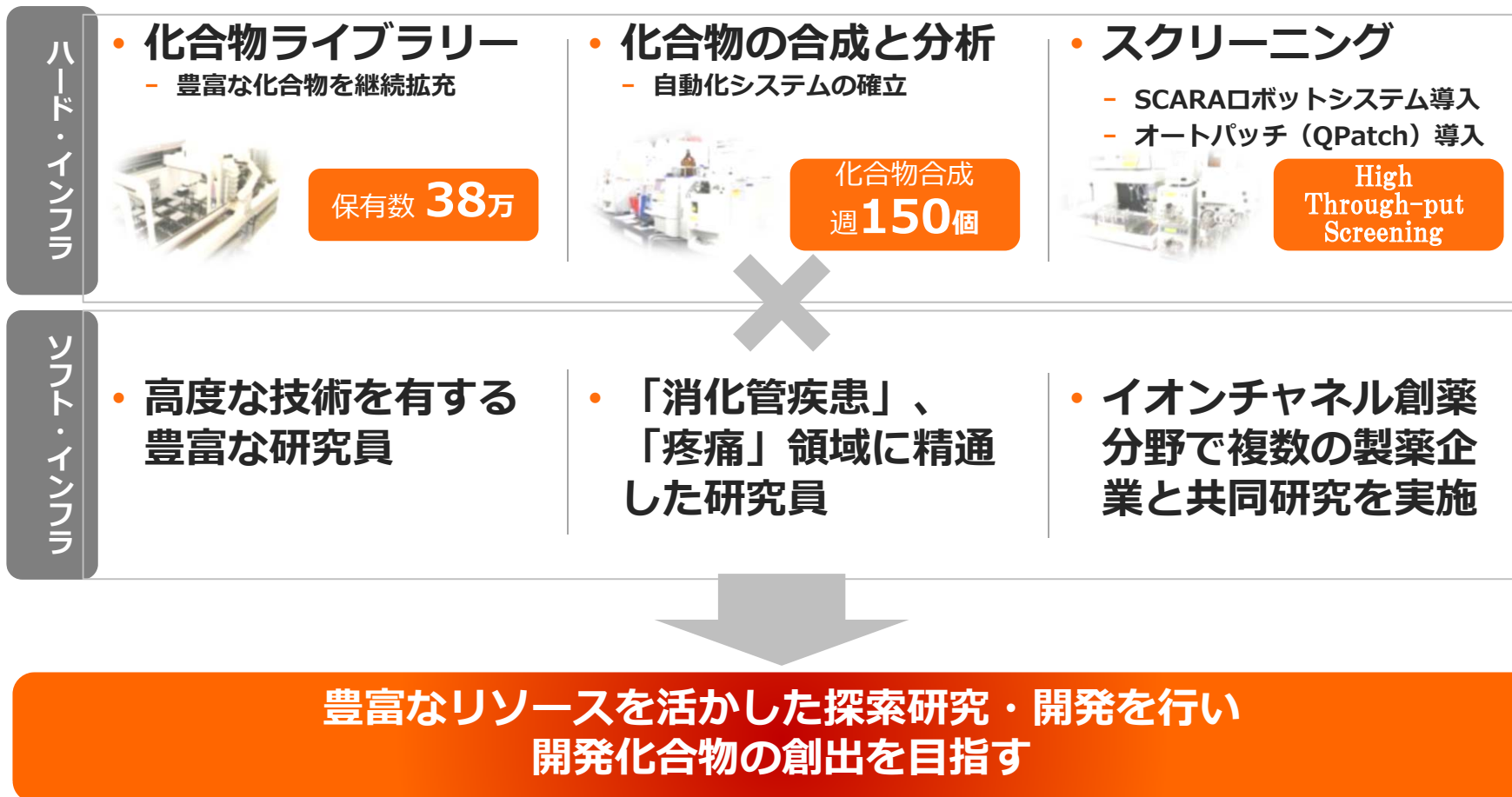


※「②マイルストーン」の収益タイミングはあくまで一例であり、実際には各企業との契約条件によって異なります。

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

強みと魅力（1）創薬力

国内バイオベンチャートップクラスのインフラを最大限に活かし、開発化合物の創出を目指す



強みと魅力（2）イオンチャネル創薬

難易度が高く、他社が容易に模倣・後追いができない領域

イオンチャネル創薬の課題

未解明の点が多い

比較的新しい研究領域であるため生理機能や病態への関与が未解明の点が多い

従来の手法が通用しない

天然のリガンドが存在しないため天然の生理活性物質が手がかりとならない

スクリーニングが困難

既存のHTS手法では間接的な観察に留まり、生きた細胞を測定する煩雑な測定系が必須

当社の優位性

大学・公的研究機関、製薬会社等との共同研究の実施

豊富な化合物ライブラリーと化合物の精製・分析の自動化システム確立

浜松ホトニクス社とイオンチャネル活性測定機器の共同開発



FDSS/μCELL
(浜松ホトニクス)



96本の電極で、同時に96化合物の電位依存性イオンチャネル活性評価が可能



QPatch HTX
(ソフィオン・バイオサイエンス)

オートパッチシステム
HTSが可能（7000
データポイント/日）
ギガシール可能

強みと魅力（2）イオンチャネル創薬（神経障害性疼痛）

痛みの中でも
「**神経障害性疼痛**」の抑制を
目指した創薬研究を実施中

神経障害性疼痛治療薬
(イオンチャネル創薬)

神経の痛み
(神経の過剰興奮)

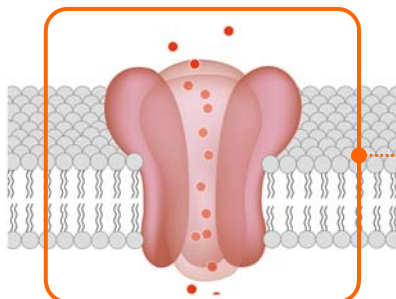
消炎鎮痛剤

炎症の痛み
(ケガ、炎症など)

抗うつ剤など

心因性の痛み
(ストレスなど)

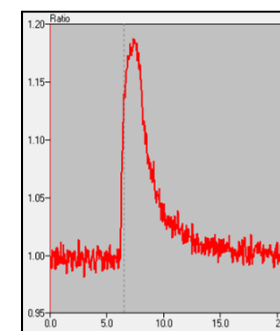
イオンチャネル



イオンチャネルとは

細胞の内外へイオンを通過させる膜タンパク質の総称。
知覚神経や運動神経における情報の伝達や様々な組織で
神経伝達物質の放出を調節する重要な役目を担っている

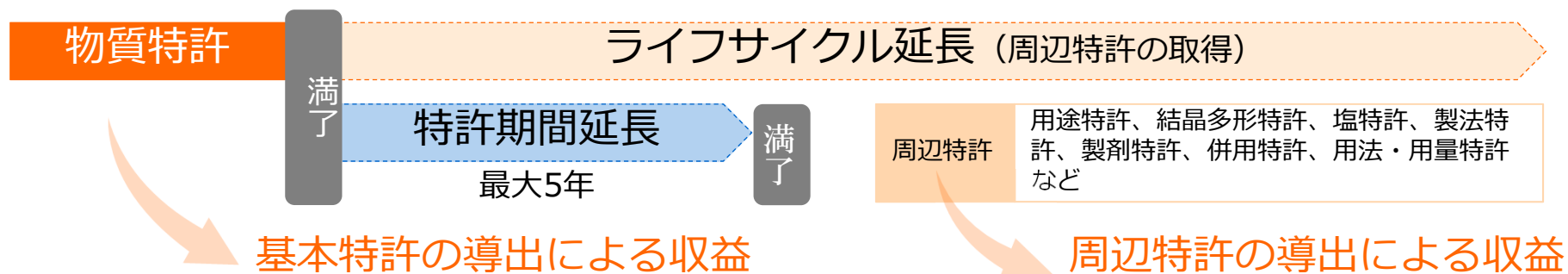
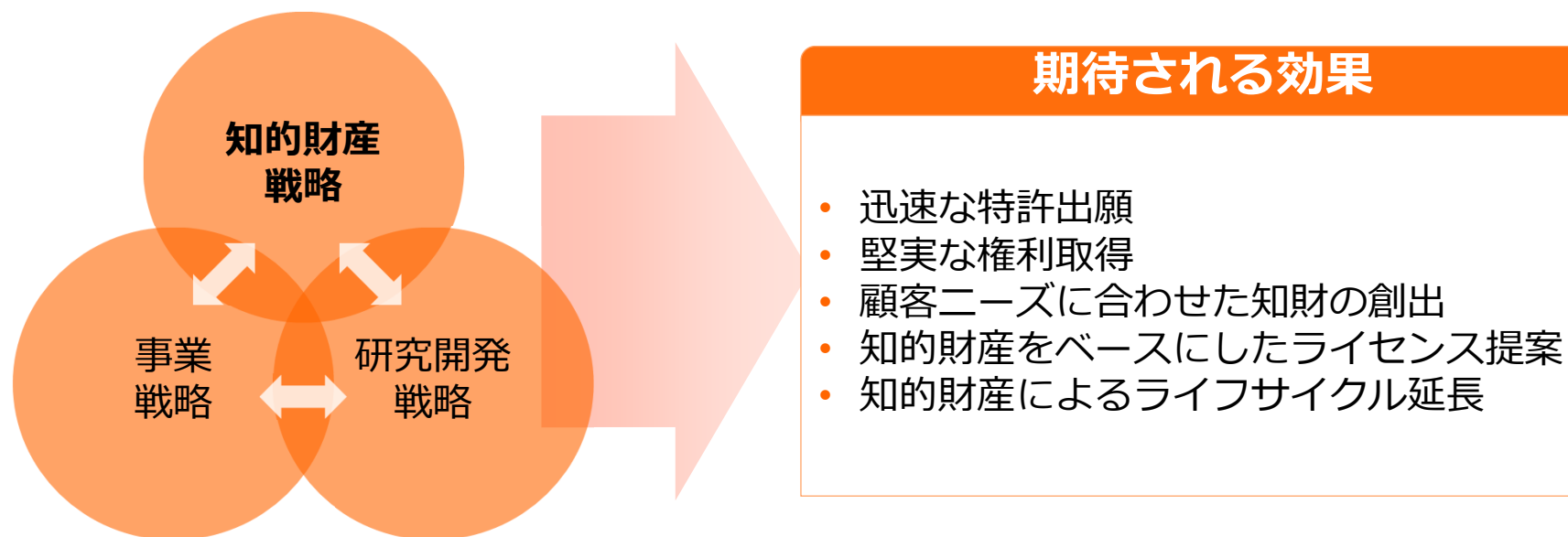
蛍光シグナル



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

強みと魅力（3）知的財産戦略

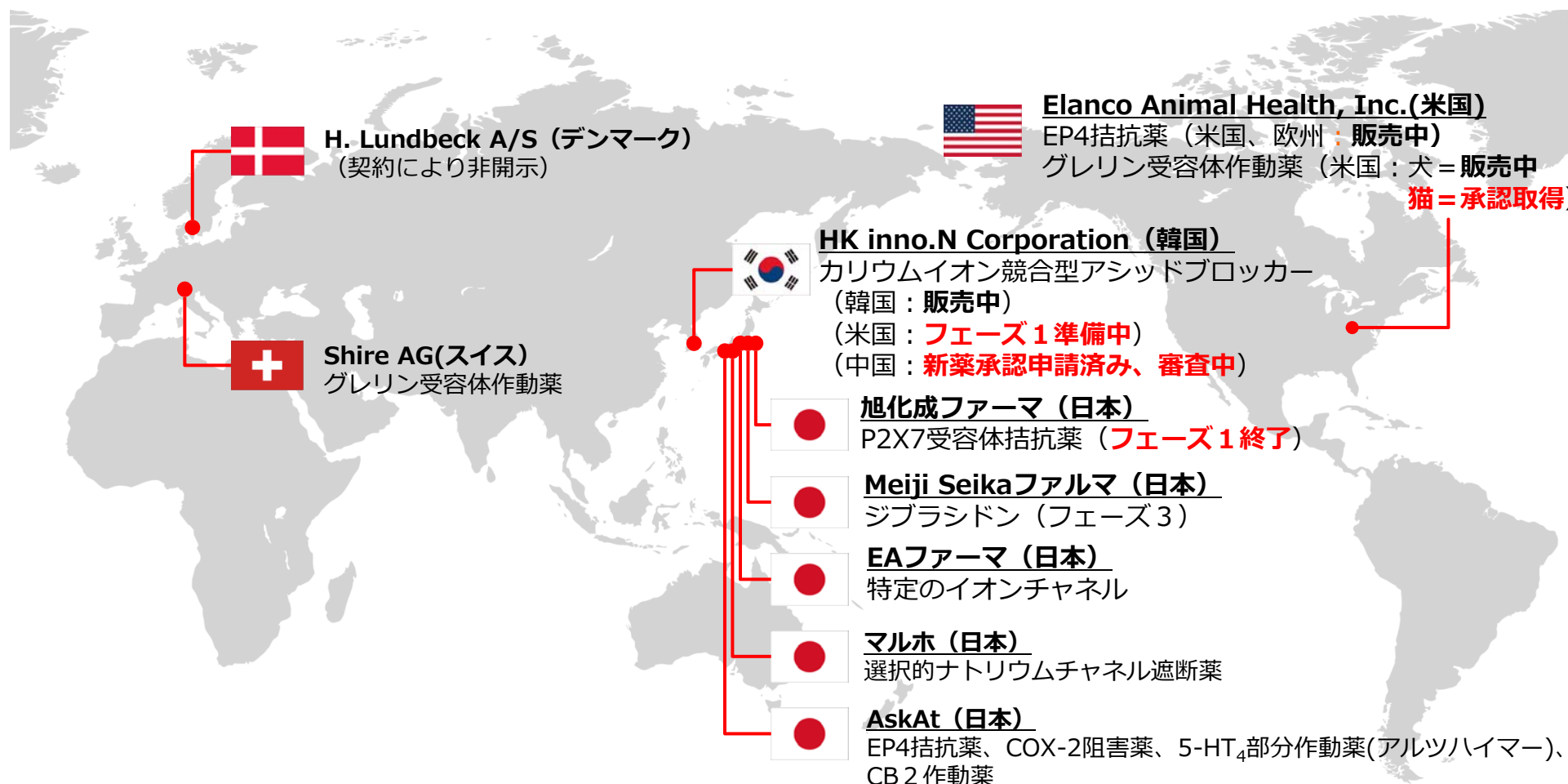
知的財産は当社の商品そのもの
 – 価値の高い知的財産ポートフォリオの構築



導出済みプログラム

(提出日現在)

- 世界5カ国9社13件のライセンス契約
- パートナー企業による順調な臨床開発



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

産学連携におけるラクオリアのミッション

- 名古屋大学を中心とした中部圏(地域)を、米国のシリコンバレーに見られるような革新的な新薬を創成するハブにする



名古屋大学発の
 医薬候補化合物の
 創出へ

