

2021年12月27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 武内 博文
(コード番号：4579)
問 合 せ 先 管理・経営企画部門長 須藤 正樹
(TEL. 052-446-6100)

事業計画及び成長可能性に関する事項の開示について

当社は、本日、「事業計画及び成長可能性に関する事項」を開示いたしましたので、お知らせいたします。

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。

URL	https://www.raqualia.co.jp/ir/
掲載日	2021年12月27日

※ 将来の事象に関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。

以 上



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社

事業計画および成長可能性に関する事項 (2021年12月期～2023年12月期)

2021年12月27日 東証ジャスダック グロース : 4579

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



RaQualia
innovators for life

企業理念

ビジョン・経営理念・当社の軌跡



innovators for life

ビジョン

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

経営理念

ラクオリア創薬で働く一人ひとりが、「**Life**（生命、生きるもの、
人生）」の尊さを思い、創薬を通じて人々の健康に貢献します

文化

高い志を胸に「**Life**（生涯）」を通じて新たな価値を創造してい
く「**Innovator**」であり続けます



創薬企業としての成長の軌跡

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

2008年の創業以来、2011年のJASDAQ上場を経て成長を重ね、2017年および2019年にそれぞれ動物用とヒト用の医薬品上市を成し遂げることができました



ヒト用医薬品
K-CAB®を販売開始

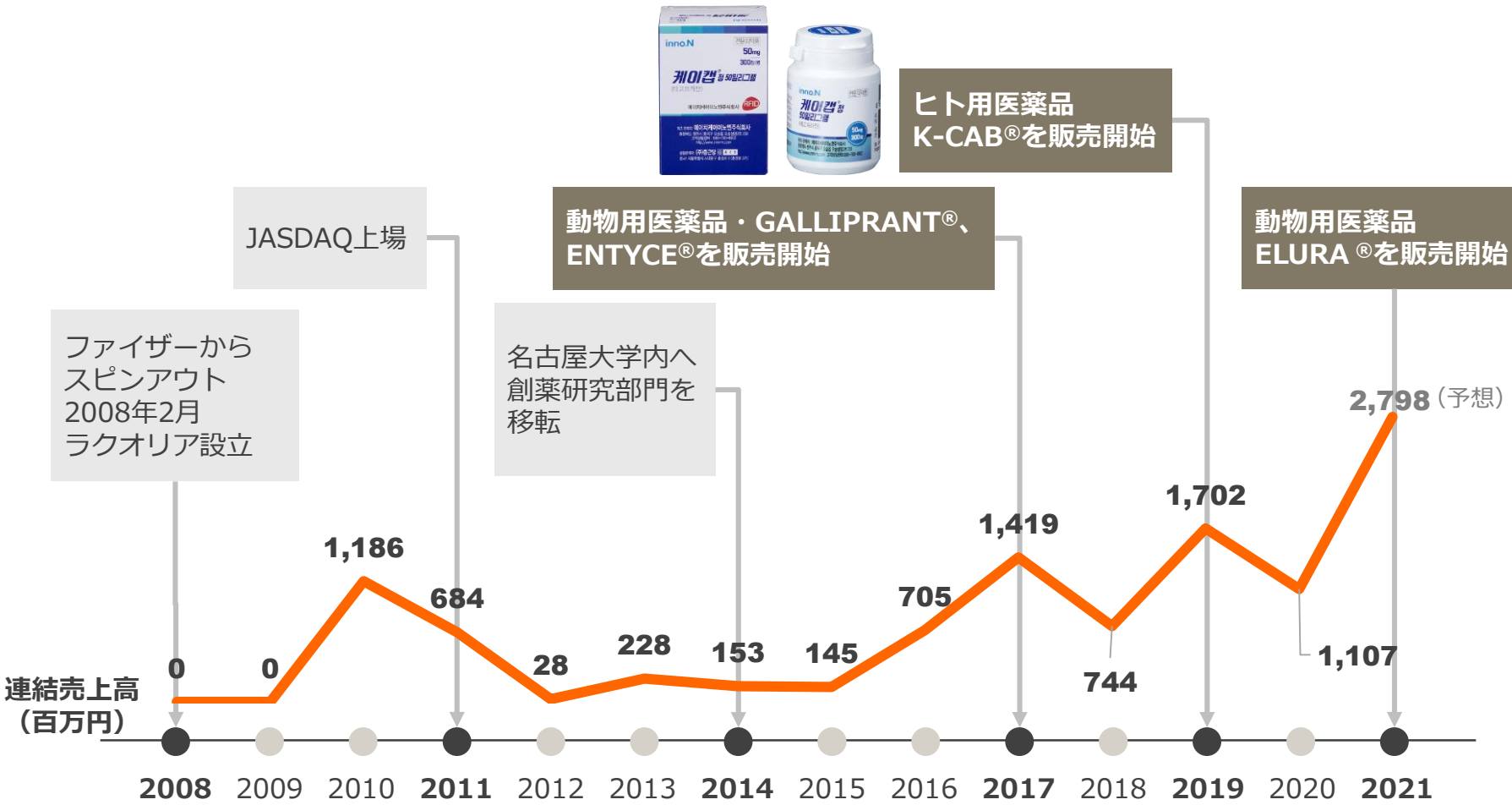
動物用医薬品・GALLIPRANT®、
ENTYCE®を販売開始

動物用医薬品
ELURA®を販売開始

ファイザーから
スピンアウト
2008年2月
ラクオリア設立

名古屋大学内へ
創薬研究部門を
移転

JASDAQ上場





RaQualia
innovators for life

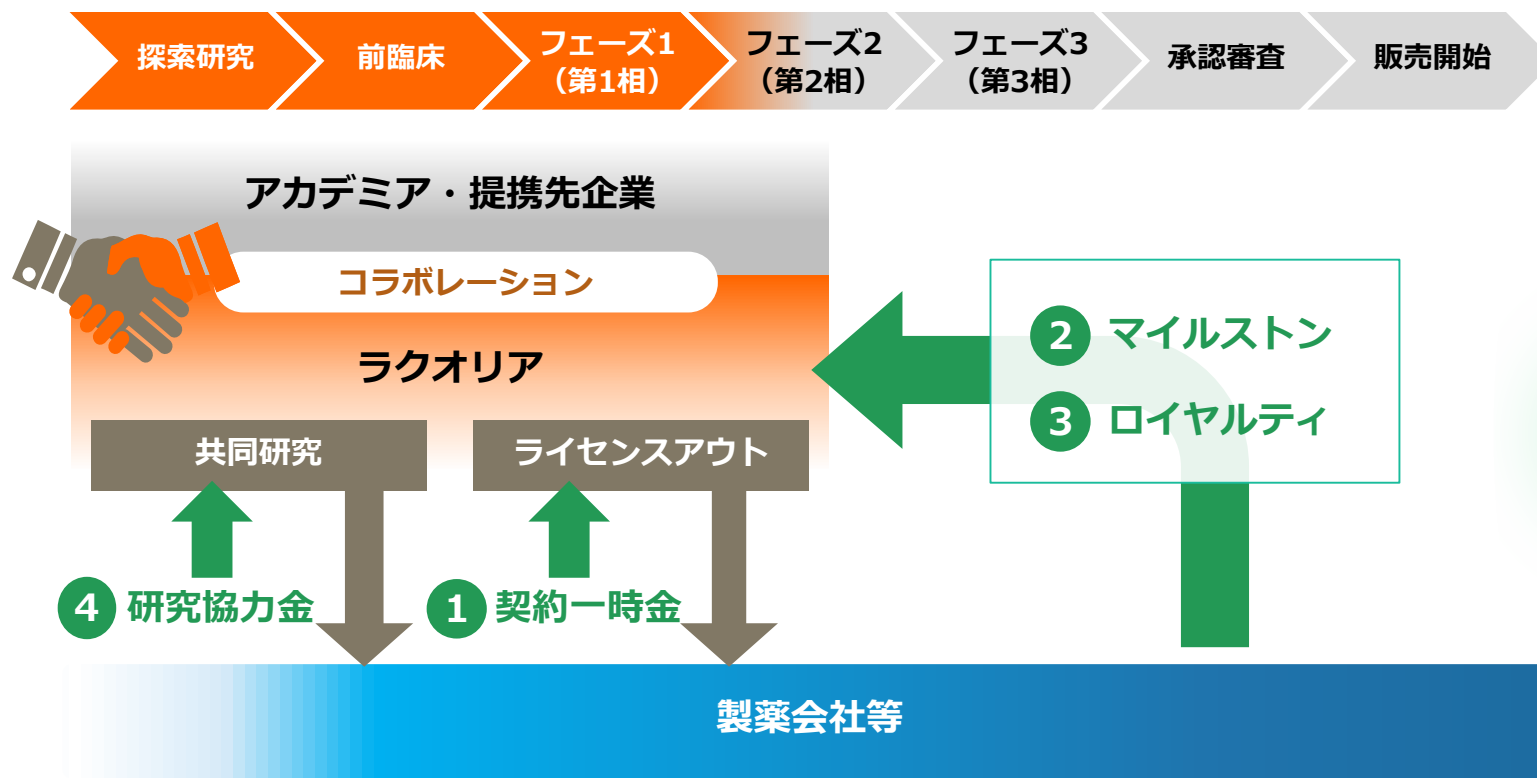
ビジネスモデル

事業内容・収益構造



idea to proof-of-value

最新のサイエンスとパートナーリングに立脚して、いまだ満たされていない医療ニーズを充足する画期的な新薬の候補を継続的に創出します
製薬会社等への導出を通じ、継続的な成長を支える事業収益を獲得します



一日でも早く革新的な新薬を
患者さんへお届けします



基本：製薬会社等への導出による契約一時金、マイルストーン、ロイヤルティ
その他：製薬会社との共同研究による研究協力金

1

**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です。当社発の新薬候補の価値とポテンシャルへの対価です

2

**マイルストーン
収入**

… 導出先企業での研究開発の進展に応じて得られる収入です。「新薬候補」を「新薬」にする過程で重要な障壁を越えることで得られます

3

**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です。ロイヤルティ収入の増加は、当社発の新薬が医療に貢献していることの証です

4

**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です。当社の創薬技術に対する対価です



RaQualia
innovators for life

市場環境



社会・政策

- 少子高齢化の進行・疾病構造の変化
- わが国における医療費抑制策
- 新薬創出への変わらぬ期待
- 新型コロナウイルス感染症による社会の変容と規制の変化



科学・技術

- バイオ技術の進化（ゲノム創薬、バイオ医薬品、疾患モデリング等）
- 医療現場のデジタルトランスフォーメーション
- AI・ビッグデータ
- 新モダリティ関連技術



製薬産業の 動向

- 標的疾患トレンドの変化
- 新薬創出における創薬ベンチャーの貢献度上昇
- AI・ビッグデータの創薬応用
- 医薬品モダリティの多様化（核酸医薬、遺伝子治療、デジタル治療）



厳しいグローバル競争

- 欧米の巨大企業群
- 頻繁な合従連衡
- 海外では新薬の6割が創薬ベンチャー起源
- 日本は医薬品輸入超過

大きい事業リスク

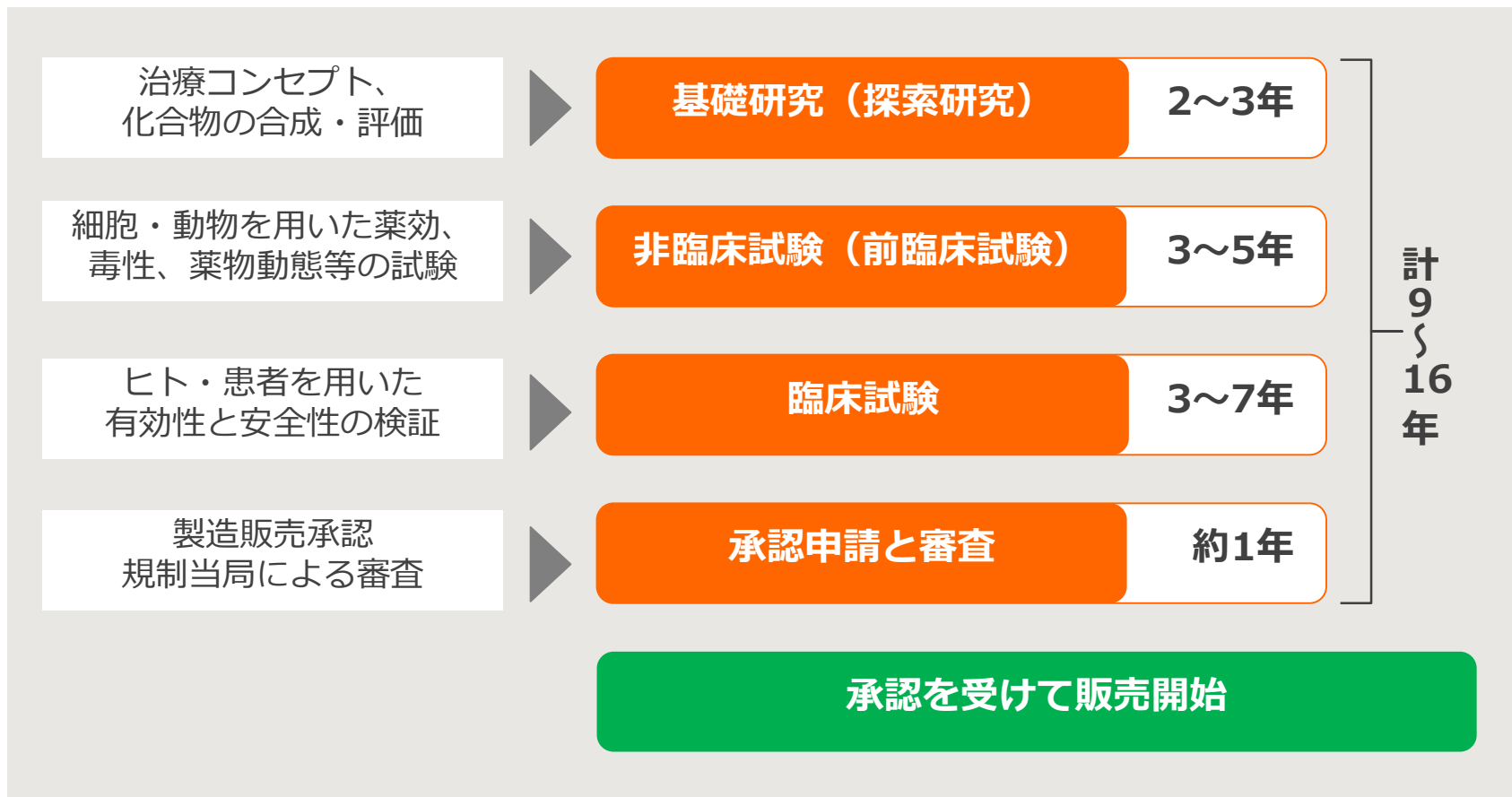
- 新薬創成の難易度は非常に高い
 - ・ 計9～16年の期間
 - ・ 巨額の開発費用
 - ・ 低い成功確率

特許の特殊性

- ごく少数の特許で製品が保護されている
- 特許期間満了後の後発品参入で売上が急激に減少

大きいリスクと低い成功確率を乗り越えた少数の製品が収益を支える
新たな医薬品/治療法の創出が企業成長の生命線を握る

事業リスクの分散化と新薬のシーズの共有のために
創薬ベンチャーが果たすべき役割は大きく、
これからも拡大し続けると予想される



製薬協ガイド2021（日本製薬工業協会、2021年）を参考に当社作図

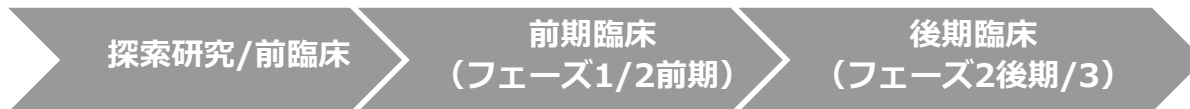


創薬イノベーションエコシステムの一員として創薬技術の開発、新薬候補の創出と橋渡しに焦点を当てた取り組みを継続する

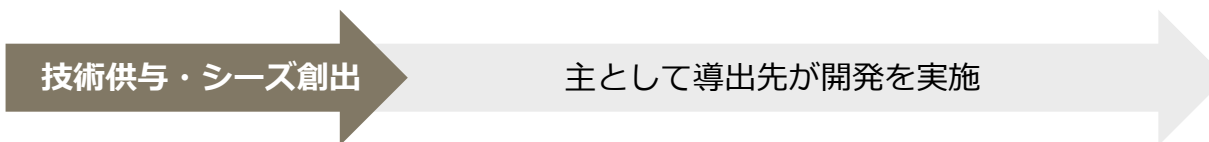
- アカデミア発創薬シーズを活用した創薬研究 (標的分子、疾患モデル、試験法、その他新技術)
- 臨床研究中核病院における臨床試験の実施



疼痛・消化器領域の創薬シーズとイオンチャネル創薬技術をコアとする パイプライン型創薬ベンチャー



プラットフォーム型



創薬シーズを創出する技術（プラットフォーム）が中核
競争排他的な技術をもって複数の企業と提携してキャッシュフローを確保

技術の競争力と汎用性が鍵

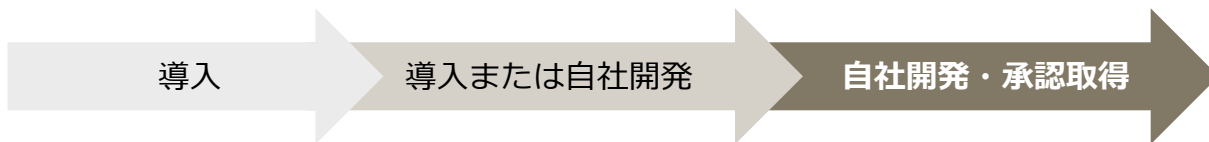
✓ パイプライン型



創薬シーズ創出から自社開発まで幅広い段階の価値連鎖を目指す
自社開発の進展に応じてリスクとリターンが大きくなる

創薬力、創薬シーズの魅力と
研究開発戦略が鍵

導入開発型



有望パイプラインを獲得し承認取得に向けた開発を実施
科学的な側面をある程度クリアしている反面、後期臨床開発で多額の投資を要する

目利きと臨床開発力が鍵



RaQualia
innovators for life

競争力の源泉

当社の強み・中長期的な成長戦略



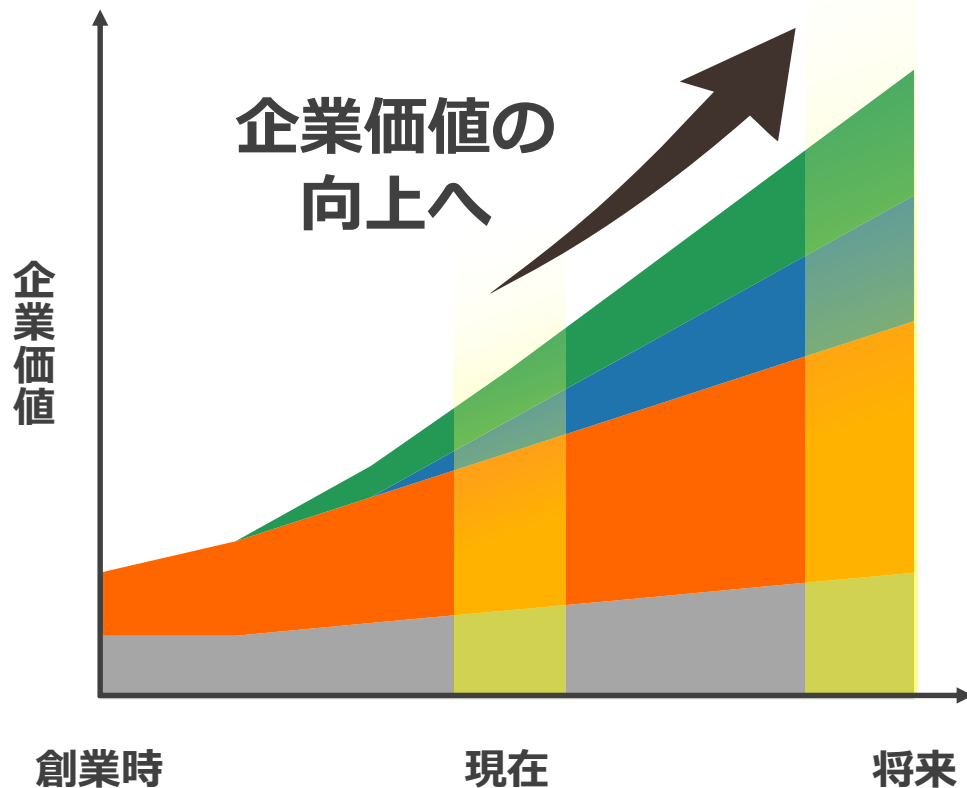
当社の成長戦略と施策

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

企業価値向上のために自社シーズの拡充に重点をおいた施策を行います

■ アセット ■ 自社シーズ ■ 共同研究：アカデミア ■ 共同研究：企業



成長施策の想定 (※)

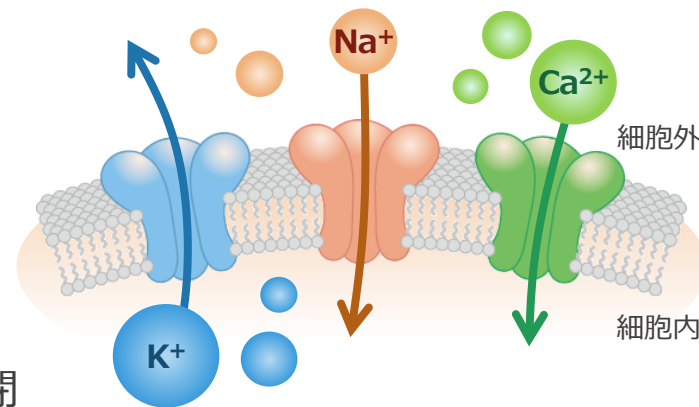


※「成長施策の想定」は取りうる施策の全体像を示したものであり、2021年度から2023年度において取り組む具体的な施策については個別に検討した上で実施します



イオンチャネルとは

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



さまざまな生理現象にイオンチャネルが深く関与

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

イオンチャネルの制御により幅広い疾患を治療できる可能性

創薬の難易度が高く、参入する企業の少ない創薬領域



5つの開発候補化合物（※）を創成し、その全てについてライセンス契約を締結

プログラム名	概要	
P2X7受容体拮抗薬	化合物コード：RQ-00466479/AK1780 旭化成ファーマ株式会社に導出 Eli Lilly社（米国）がグローバル開発を実施中	
選択的ナトリウムチャネル遮断薬	化合物コード：非開示 主適応症：鎮痛・鎮痒 マルホ株式会社にて開発中	
特定のイオンチャネル	化合物コード：非開示 主適応症：特定の消化器疾患 EAファーマ株式会社にて開発中	
TRPM8遮断薬	化合物コード：RQ-00434739 主適応症：慢性疼痛 Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.に導出	今期に導出 2021年9月
ナトリウムチャネル遮断薬	化合物コード：RQ-00350215 主適応症：慢性疼痛 久光製薬株式会社に導出	今期に創製・導出 2021年12月

※開発候補化合物：前臨床試験以降の段階に進める新薬候補物質として選定された化合物



創薬標的
分子の探索

評価系の
構築

リード化合物
創出

リード化合物
最適化

開発候補
化合物の決定



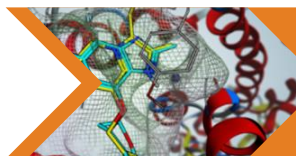
充実したイオンチャネル評価系

各種イオンチャネル発現細胞の蓄積
上記細胞を用いたハイスループットスクリーニング(HTS)を常に実施可能な体制



難易度が高い評価にも対応可能な優れた電気生理評価力

経験が豊富なプロの電気生理研究者
ラクオリアにしかできない電気生理評価で共同研究を獲得



卓越した化合物デザイン・合成力

イオンチャネル創薬で磨き上げた化合物デザイン力
自動精製システムを用いて合成期間を短縮化



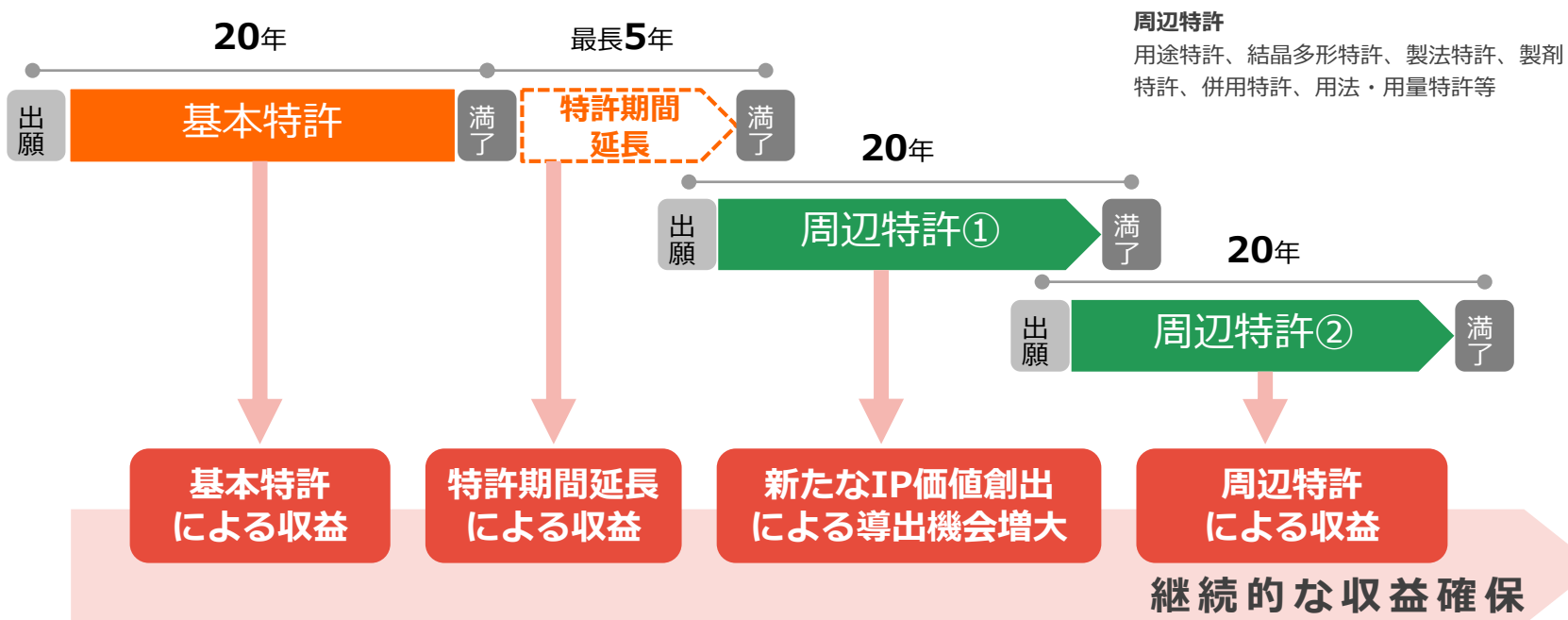
● 価値の高い知的財産ポートフォリオの構築

継続的に基本特許（物質）を出願し、世界の主要国において権利化。公的助成金の活用によるコスト削減への取り組み

● LCM (Life Cycle Management) の展開

基本特許（物質特許）出願後、特許延長、周辺特許出願によりライフサイクルを延長。独占排他権の維持によって継続的な収益を確保し、当社パイプラインの価値を最大化

LCMによる独占排他権維持のイメージ





RaQualia
innovators for life

上市品の状況

テゴプラザン・ペット用医薬品



韓国国内の売上は好調に推移¹⁾

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

前年同期比
+49%

韓国での健康保険適用範囲の拡大²⁾

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

メキシコにおける医薬品承認審査の進展³⁾

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

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

※本資料では、当社がHK inno.N Corporation（HKイノエン社）へ導出した胃食道逆流症治療薬tegoprazan（カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）；韓国販売名：K-CAB®）を「テゴプラザン」と記載します。



HKイノエン社とBraintree Laboratories, Inc. (Braintree社) (米国) が米国およびカナダにおけるサブライセンス契約を締結

- Braintree社は上記地域における独占的な開発・販売権を取得
- 今後、当社は開発段階に応じたマイルストーン（数億円規模）と製品販売高に応じた一定料率の販売ロイヤルティを受領する見込み

北米地域：大きな未充足ニーズが存在する巨大な市場



- 世界の消化性潰瘍治療薬市場（約2兆円）のおよそ2割
- 上市されているP-CABはなく、プロトンポンプ阻害薬（PPI）が治療の主流
- しかし、PPIでは効果がみられない胸やけ症状や食道粘膜障害を持つ患者が約40%を占める

**臨床開発の加速化と早期の販売開始によって
中長期的な当社の収益基盤に成長することを期待**

【Braintree社について】

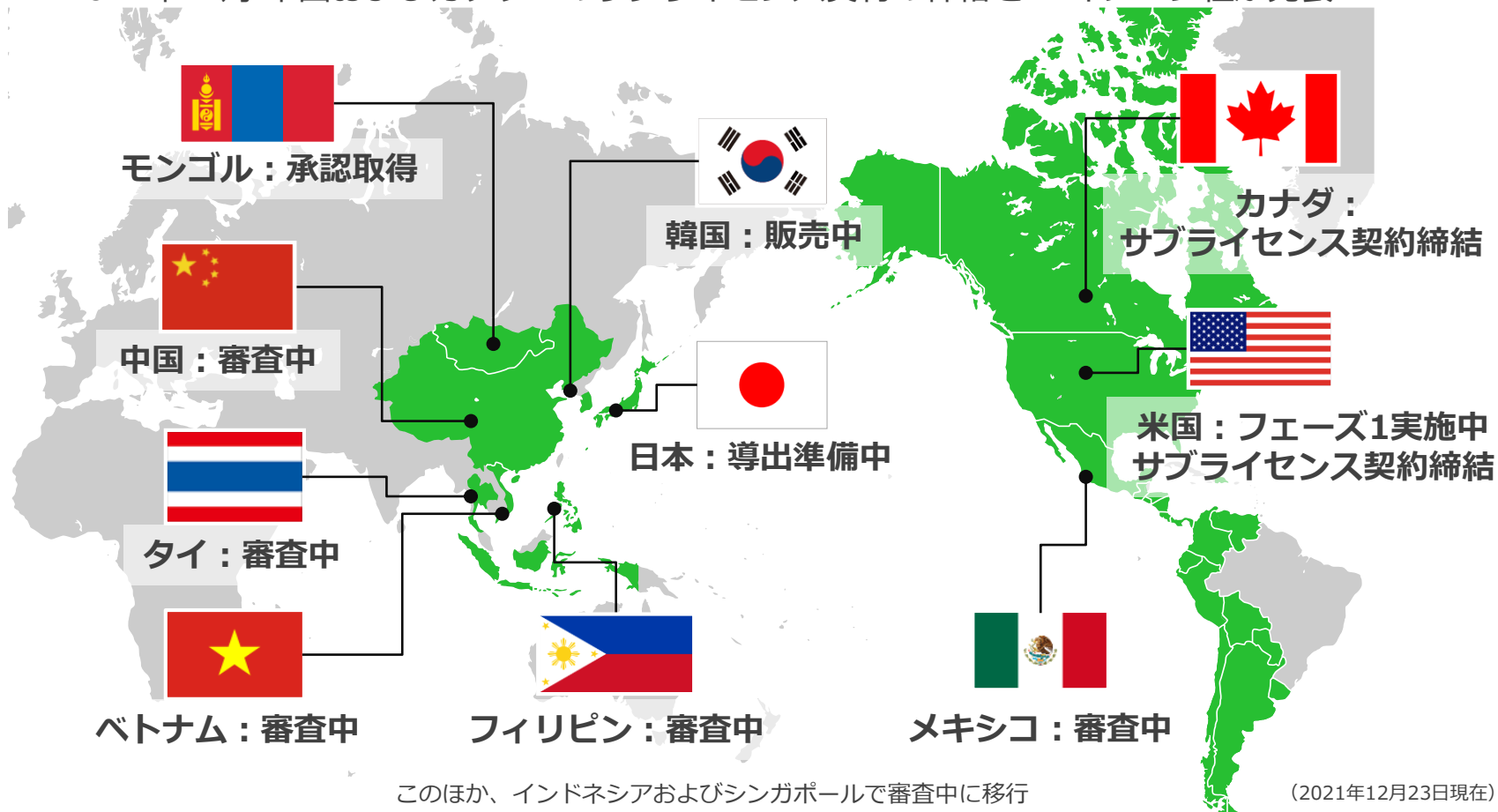
- 米国の製薬会社Sebela Pharmaceuticalsグループ (<https://sebelapharma.com/>) に属する消化器/皮膚科/婦人科等の領域の専門企業（本社：米国マサチューセッツ州ブレインツリー市）
- 主要製品：SUTAB®/SUPREP®（大腸内視鏡検査準備に用いる腸管洗浄剤）、NAFTIN®（抗真菌剤（足白癬））
- パイプライン：BLI801（オピオイド誘発性便秘（フェーズ3準備））、VeraCept（子宮内避妊器具（フェーズ3））



テゴプラザンの世界展開

HKイノエン社（韓国）との強固なパートナーシップにより世界展開を拡大中

- 既に上市済みの韓国を除き、合計25ヶ国において開発・審査が進行中
- 2022年に中国での承認取得と販売開始を見込む
- HKイノエン社発表：「2028年にはグローバル100カ国への進出を目標としている」
- 2021年12月 米国およびカナダへのサブライセンス契約の締結をHKイノエン社が発表





テゴプラザン (K-CAB®) の既存薬に対する優位性

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

(HKイノエン社発表資料 IR Book (2021年7月) より引用・和訳)

inno.N

K-CAB®は、既存薬であるプロトンポンプ阻害薬 (PPI) やH₂ブロッカー (H2RA)、および競合のP-CAB薬剤に比べて、優れた有効性および優れた安全性を示す

P-CABはPPIとH2RAの双方の欠点を克服する治療薬

市場ポジショニング



K-CAB®の概要

適応疾患	胃食道逆流症 (びらん性・非びらん性)、 消化性潰瘍、 ヘリコバクター・ピロリ除菌補助療法
市場規模	韓国市場：約6,002億ウォン (約579億円 (※)) グローバル市場：21兆ウォン (約2兆円 (※))
特許期間	韓国国内市場：~2036年3月 グローバル市場：~2035年11月

データ出所：HKイノエン社社内資料およびBCC Research

P-CAB：カリウムイオン競合型アシッドブロッカー；ALT：アラントランスアミナーゼ；AST：アスパラギントランスアミナーゼ

※ 1 韓国ウォン=0.0964円で換算

K-CAB®は競合するP-CAB薬剤に比べて優れた特性を示す

	K-CAB®	Vonoprazan (タケキャブ®)	Fexuprazan
会社	HKイノエン社	武田薬品工業	Daewoong Pharmaceuticals
薬効発現までの時間	~ 20-30 分	~ 2.5-4 時間	~ 2.5-4 時間
夜間の酸逆流を抑制	✓	X	
びらん性	✓	✓	
非びらん性	✓	X	
ガストリン値	+	+++	
ALT/AST値	-	+++	
薬物相互作用の可能性	+	+++	
現在開発中			

この資料の正式言語は韓国語であり、内容および解釈については韓国語が優先します。



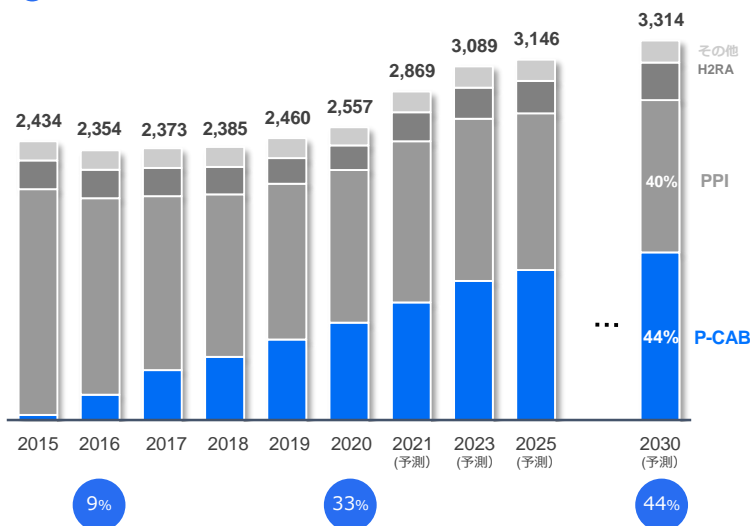
(HKイノエン社発表資料 IR Book (2021年7月) より引用・和訳)

P-CABは、従来の薬との併用/置き換えなどの新たな需要に基づいて 迅速に市場を拡大する見込み

日本のP-CABの市場は、既存薬との併用/置き換え需要と新市場の形成を介して急速に成長しているとみられる

日本の消化性潰瘍治療薬の市場規模 (億円※)

● P-CAB市場シェア



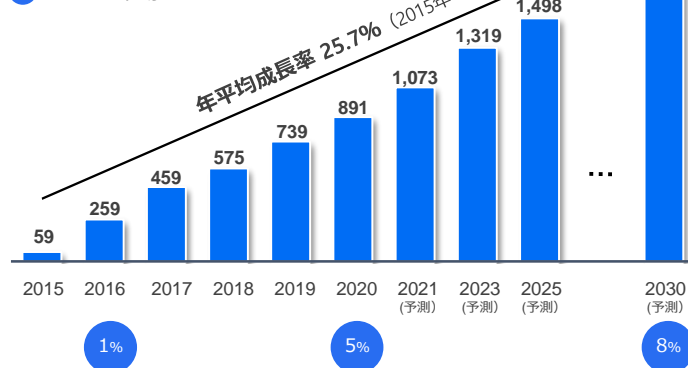
グローバルP-CAB市場も同様の推移を示すと見込まれる

世界の消化性潰瘍治療薬の市場規模 (兆円※)



世界17カ国¹⁾ P-CAB市場規模 (億円※)

● P-CAB市場シェア



データ出所：BCC Research

注釈：1) 日本、韓国、中国、東南アジア4カ国、米国、ブラジル、イタリア、フランス、ドイツ、カナダ、スペイン、英国、ロシア、およびアルゼンチン

※原資料では韓国ウォンで表示。1 韓国ウォン = 0.0964円で換算

この資料の正式言語は韓国語であり、内容および解釈については韓国語が優先します。



RaQualia
innovators for life

当社の収益に貢献するペット用医薬品

事業計画および
成長可能性に
関する事項

EP4拮抗薬 GALLIPRANT®



一般名	grapiprant (グラピプラント)
適応症	犬の変形性関節症
販売元	Elanco Animal Health, Inc. (米国) (エランコ社)

販売状況

- 日米欧で販売中
- 非ステロイド性消炎鎮痛剤のトップブランドに成長

グレリン受容体作動薬 ENTYCE®/ELURA®



一般名	capromorelin (カプロモレリン)
適応症	犬の食欲不振 (ENTYCE®) 慢性腎疾患の猫の体重減少管理、猫の食欲不振 (ELURA®)
販売元	エランコ社

販売状況

- ENTYCE® : 米国で販売中、売上は堅調に推移
- ELURA® : 2021年3月 米国販売開始

世界のペット用医薬品市場は、2020年に11,832米ドルに達し、年平均成長率6%で2027年には17,603米ドルに達する見込み (※)

※ 出所 : Companion Animal Drugs Market Size, Global Forecast Report 2027 (Global Market Insight, 2020)



RaQualia
innovators for life

導出済みプログラムの状況

開発状況・新たなライセンス契約



導出済みプログラム（ヒト）（1）

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- **テゴプラザン**：韓国での販売好調、中国では承認審査中で2022年に上市見込み、米国ではHKイノエン社が第1相臨床試験（P1試験）を実施中。2021年12月、同社とBraintree社（米国）の間で米国およびカナダを対象としたサブライセンス
- **EP4拮抗薬**：Ikena Oncology社（米国）とNewBay MT社（中国）がP1試験を実施中
- **ジプラシドン**：Meiji Seikaファルマにおいて今後の開発計画および開発戦略に関する検討を継続

プロジェクト名	導出先	主適応症	実施地域	臨床開発						
				探索	前臨床	P1	P2	P3	承認申請	承認
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®)	HKイノエン社 (韓国)	胃食道逆流症	韓国	販売中（2019年3月上市）						
			中国							審査中
			米国			実施中				
			モンゴル ¹⁾ 、 メキシコ、タイ、 ベトナム、 フィリピン、 インドネシア、 シンガポール							審査中
			中南米16カ国						準備中	
EP4拮抗薬	(株)AskAt ²⁾	疼痛	米国				前期終了			
			中国			終了				
		がん	米国			実施中				
			中国			実施中				
ジプラシドン	Meiji Seika ファルマ(株)	統合失調症	日本					実施中		

1) 承認取得（販売準備中）；2) 各地域で開発を実施している会社の情報については、その他補足情報①（経営上の重要な契約等）もあわせてご参照ください。



導出済みプログラム（ヒト）（2）

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- **CB2作動薬**：AskAtの導出先であるOCT社（英国）がCB2作動薬の前臨床試験を進行中（同社は、前臨床試験の終了後、6年目に承認申請を予定）
- **選択的ナトリウムチャンネル遮断薬**：マルホにて引き続き開発中
- **P2X7受容体拮抗薬**：Eli Lilly 社が第2相臨床試験（P2 試験）以降のグローバル開発を準備中。P2 試験の開始時にマイルストーン収入が発生する 見通し
- **特定のイオンチャンネル**：EAファーマにて引き続き開発中
- **TRPM8遮断薬&ナトリウムチャンネル遮断薬**：今期新たに導出。概要をP30～P32に記載

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



新たなライセンス契約 (1)

(2021年9月22日公表)

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

- 日本を除く全世界を対象とした独占的な開発・製造・販売権
- 疼痛治療薬の開発に向けて、前臨床段階以降の開発をXgene社が実施
- 契約一時金、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売額に応じたロイヤルティ

【Xgene社について】



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

【ご参考：疼痛治療薬の市場ポテンシャル】¹⁾

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

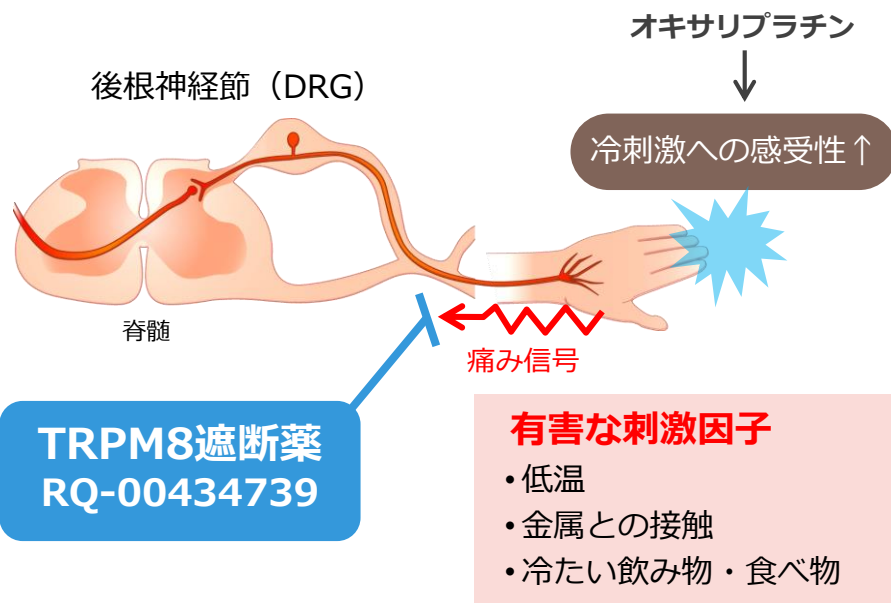
1) 日経バイオ年鑑2021 (日経BP社、2020年) ; 2) 2019年のデータ ; 3) 一般名で表記



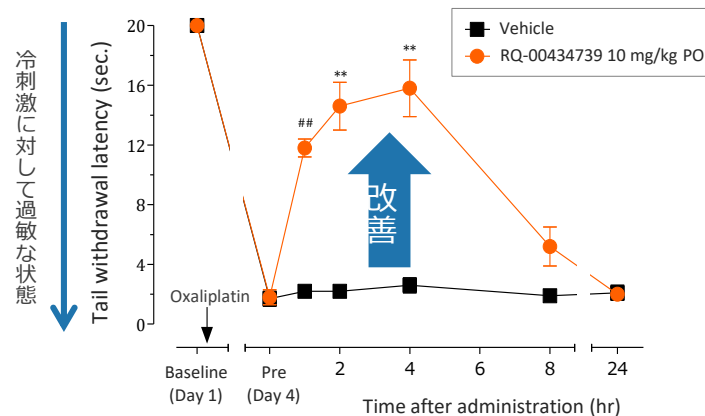
TRPM8とは

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

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



オキサリプラチン誘発サル神経障害モデルにおけるRQ-00434739の効果



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



新たなライセンス契約 (2)

(2021年12月20日公表)

事業計画および
成長可能性に
関する事項

新規ナトリウムチャンネル遮断薬 (RQ-00350215) に関する ライセンス契約を締結

- 全世界対象の独占的な開発・製造・販売権を久光製薬株式会社（久光製薬）に供与
- 慢性疼痛治療薬の開発に向けて、前臨床段階以降を久光製薬が実施
- 同社が強みを有する経皮吸収型薬剤として開発
- 当社は契約一時金を受領し、今後の進展に応じてマイルストーンおよびロイヤルティを受領する権利を保有

- ✓ 契約一時金：6億円
- ✓ 開発段階に応じたマイルストーン：最大で約30億円
- ✓ 販売ロイヤルティ：一桁台後半の料率
- ✓ 販売額に応じたマイルストーン：最大で百数十億円

【久光製薬について】



名称	久光製薬株式会社
代表者	代表取締役社長 中富一榮
設立年月日	1944年5月22日
資本金	8,473百万円（2021年8月31日現在）
事業内容	医薬品、医薬部外品、医療機器等の製造、販売および輸出入
ウェブサイト	https://www.hisamitsu.co.jp/



タミバロテン (TM-411/SY-1425)

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

シロス社の開発方針・開発状況

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



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

SELECT-AML-1の計画概要

- RARA陽性未治療Unfit AML患者 (約80症例)
- タミバロテン+ベネトクラクス+アザシチジンの3剤併用療法
- タミバロテン+ベネトクラクス+アザシチジン群とベネトクラクス+アザシチジン群が1:1になるよう無作為に割付けて有効性・安全性を評価
- ベネトクラクス+アザシチジン併用療法に奏功しない患者に対する救援療法の評価も含む



RaQualia
innovators for life

導出準備プログラムの状況

想定市場規模・競合・化合物の特長



導出準備プログラム

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- **テゴプラザン**：日本国内での早期の上市に向け、臨床開発の実施に向けたあらゆる可能性を検討中
- **5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬、モチリン受容体作動薬**：臨床開発の実施について検討中
- **グレリン受容体作動薬**：前臨床試験用の原薬製造完了。外部委託による前臨床試験を実施中
- **TRPM8遮断薬**：Xgene社への導出後も日本国内の権利は当社が保有

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



5-HT₄部分作動薬の概要

RQ-00000010

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

研究開発段階	第1相臨床試験（フェーズ1）終了（健常人）
想定適応症	胃不全麻痺、機能性胃腸症、慢性便秘
対象地域	全世界
患者数	胃不全麻痺：約8万人（米国） 慢性便秘：約4200万人（米国） 機能性胃腸症：約2000万人（米国）
既存薬	消化管運動改善薬：メトクロプラミド 慢性便秘：プルカロプリド*、エロビキシバット、モビコール、ルビプロストン等
市場規模	慢性便秘：6600億円（全世界）；600億円（日本）
製品機能の目標	胃不全麻痺：消化管運動亢進による胃排出促進効果、症状改善（胃もたれ、腹部膨満感、心窩部痛、悪心・嘔吐）および高い安全性を有する薬剤
競合	胃不全麻痺：プルカロプリド*およびレラモレリン*
差別化ポイント	5-HT ₄ 受容体に対する高い選択性、強い活性、低い原薬生産コスト
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許ほか周辺特許は主要国で登録済み、再審査期間を含む）

データ出所：Gut. 2019 December；68(12): 2238-2250、日経バイオ年鑑2021（日経BP社、2020年）ほか *日本未承認

LOE (Lost of Exclusivity)：独占期間の満了



5-HT₄部分作動薬の特長

RQ-00000010

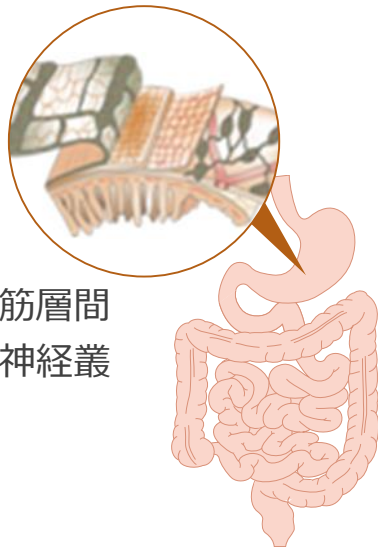
事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- 非常に高い5-HT₄ 受容体選択性と活性
- 胃不全麻痺から便秘まで、幅広い薬効の期待
- フェーズ1 試験において、8日間投与で胃排出を促進

広い適応範囲

5-HT₄ 受容体は消化管の腸管神経系に発現



1 胃排出促進

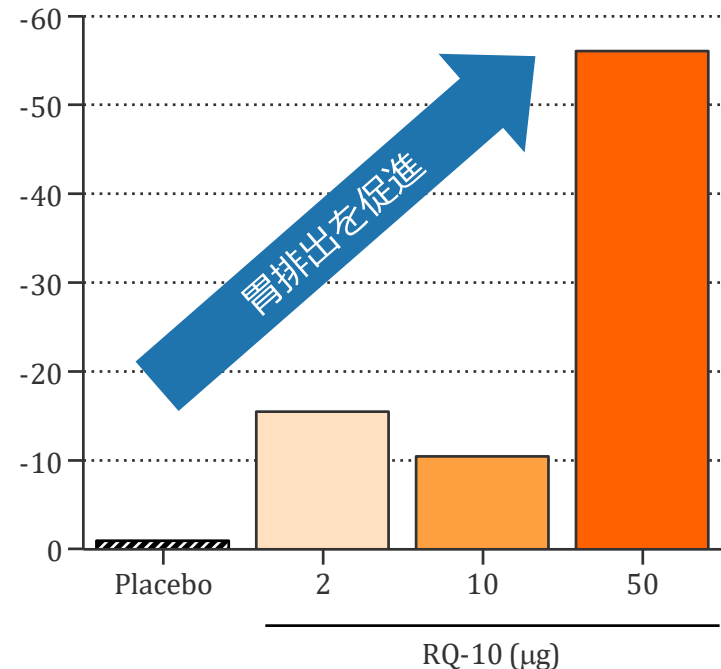
胃食道逆流症
機能性ディスペプシア
胃不全麻痺

2 腸管運動促進

慢性便秘
便秘型過敏性腸症候群
術後腸閉塞

臨床試験における胃排出促進

投与前に比べ、胃排出時間を短縮（健康成人）





5-HT_{2B}拮抗薬の概要

RQ-00310941

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

研究開発段階	第1相臨床試験（フェーズ1）終了（健常人および潰瘍性大腸炎（UC）患者）
想定適応症	下痢型過敏性腸症候群（IBS-D） 炎症性腸疾患におけるIBS様症状（IBD-IBS）
対象地域	全世界
患者数	西洋の成人の10-20%にIBS様の症状がありその40%が下痢型（IBS-D） 寛解期のIBD患者の40%にIBS様の症状 約7億人（全世界）
既存薬	IBS-D：リファキシミン*、エルクサドリン*、アロセトロン*/ラモセトロン等 IBD-IBS：なし
市場規模	IBS-D：900億円（全世界）
製品機能の目標	IBS-D：便形状（軟便、水様便）や腹痛等の腹部症状を改善し、虚血性大腸炎等の懸念が無い薬剤
競合	ORP-101等
差別化ポイント	リファキシミン*との比較：抗菌剤ではない アロセトロン*/ラモセトロンとの比較：虚血性大腸炎や重篤な便秘の懸念が低い
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許は主要国で登録済み、再審査期間および周辺特許出願を含む）

データ出所：Adv. Ther. (2020) 37:83-96; Market Spotlight: Irritable Bowel Syndrome IBS) (Datamonitor Healthcare (2021)ほか *日本未承認
LOE (Lost of Exclusivity)：独占期間の満了



5-HT_{2B}拮抗薬の特長

RQ-00310941

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- 5-HT_{2B} 受容体に対する高い選択性と、非常に強い活性
- フェーズ 1 試験の結果、高い忍容性と安全性を確認
- 寛解期UC患者において、排便時のすっきり感が増す傾向確認

既存薬の課題

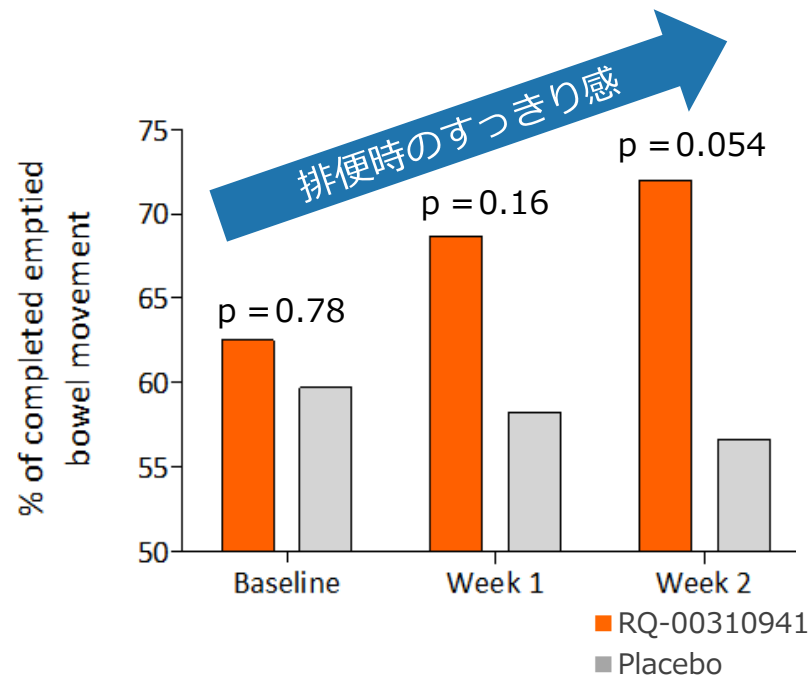
下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)

既存薬	ラモセトロン/ アロセトロン*	リファキシミン
作用機序	5-HT ₃ 受容体拮抗薬	抗菌薬
課題	虚血性大腸炎や重篤な便秘が発現するリスクあり	薬剤耐性のリスクあり

*日本未承認

UC 患者での臨床試験結果

150 mg を14日間投与 (N=10)





研究開発段階	前臨床試験実施済み；第1相臨床試験（フェーズ1）検討中
想定適応症	胃不全麻痺、機能性胃腸症および術後イレウス
対象地域	全世界
患者数	胃不全麻痺：約8万人（米国） 機能性胃腸症：約2000万人（米国）
既存薬	メトクロプラミド（糖尿病性胃不全麻痺、FDAによる黒枠警告） エリスロマイシン（胃排出促進、抗生物質に対する耐性の可能性）
市場規模	胃不全麻痺：50億円以上（米国）（※）
製品機能の目標	空腹時の消化管運動亢進によって腹部症状を改善する薬剤
競合	胃不全麻痺：プルカロプリド*およびレラモレリン*
差別化ポイント	強い消化管運動亢進作用、および薬効用量での脱感作リスクの低さ
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許は主要国で登録済み、再審査期間および周辺特許出願を含む）

データ出所：Gut. 2019 December；68(12): 2238-2250ほか

※ 既存薬（メトクロプラミド）の薬価と患者数に基づく当社推定

*日本未承認



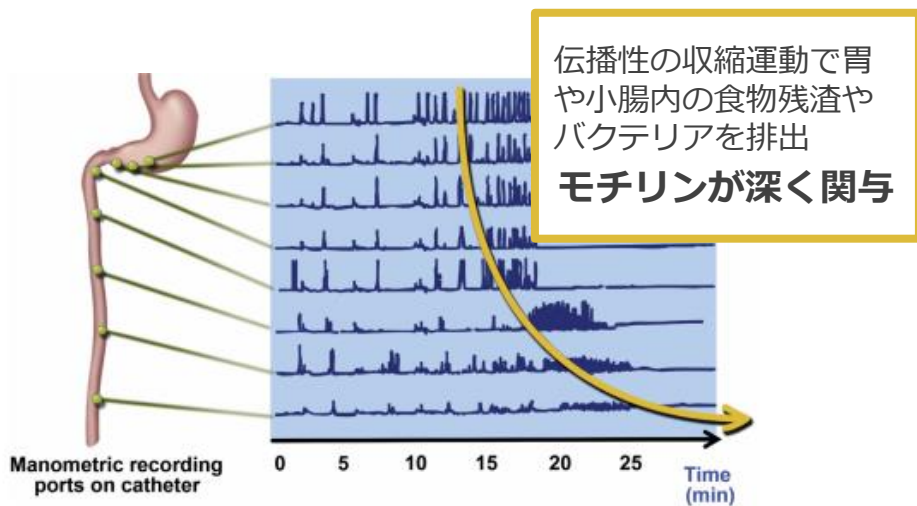
- モチリン受容体（ヒト）に対する高い作動薬活性
- 動物試験（イヌ胃運動）における強い薬効
- 薬効用量の反復投与による脱感作なし
- 胃不全麻痺：高いUnmet medical needs（安全な承認薬なし）

伝播性消化管収縮運動

Migrating Motor Complex (MMC)

MMCの異常

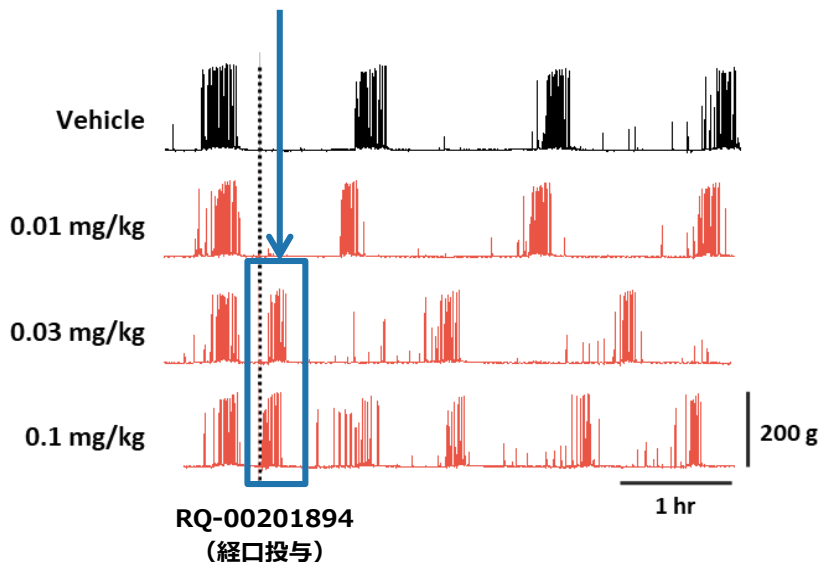
- 胃排出の遅延（胃不全麻痺）
- 腸内細菌の異常増殖
- 腸管の偽閉塞



画像出所：Gastroenterology 2016;150:1292-1304（一部改変）

イヌ胃前庭部の収縮における RQ-00201894の効果

低用量の経口投与直後から
強い収縮運動が惹起される





研究開発段階	前臨床試験実施中
想定適応症	がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘
対象地域	全世界
患者数	悪液質：約200万人（全世界）（がん患者の20-30%の死因が悪液質） 脊髄損傷に伴う便秘：約30万人（全世界）（※）
既存薬	がん悪液質：アナモレリン 脊髄損傷に伴う便秘：酸化マグネシウム、ルビプロストン等
市場規模	悪液質：300億円以上（全世界） 脊髄損傷に伴う便秘：200億円以上（全世界）（※）
製品機能の目標	悪液質：食欲・摂食状況の改善とともに体重増加・身体機能の改善を可能にする薬剤 脊髄損傷に伴う便秘：排便中枢に直接作用し、短時間で自律的な排便を可能にする薬剤
競合	悪液質：ACM-001 ((S)-pindolol) 等 脊髄損傷に伴う便秘：主適応として開発中の薬剤なし
差別化ポイント	強い薬効と広い安全域
知財/独占期間	LOE>15年（物質特許は主要国で登録済み、再審査期間および周辺特許出願を含む）

※全世界で年間25~50万人の脊髄損傷患者（WHOウェブサイト）とされていることから、脊髄損傷に伴う便秘の患者数が約30万人に上ると当社で推計。市場規模についても同様に既存薬の薬価と想定患者数に基づき当社で推定



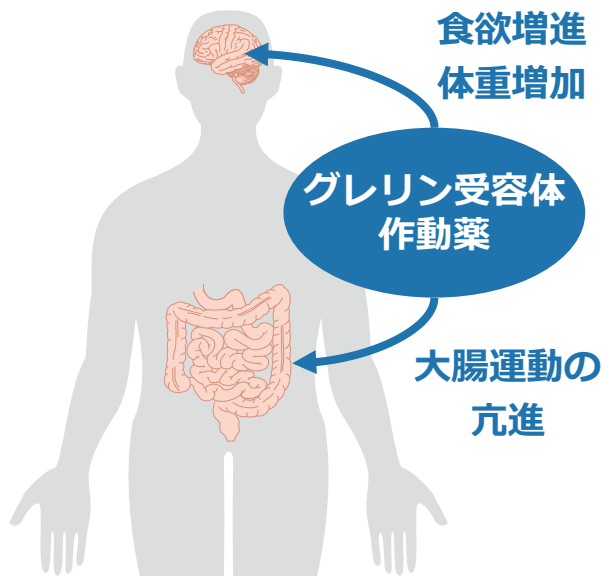
がん悪液質、および脊髄損傷に伴う便秘の双方に対する有効性が期待される化合物

● がん悪液質

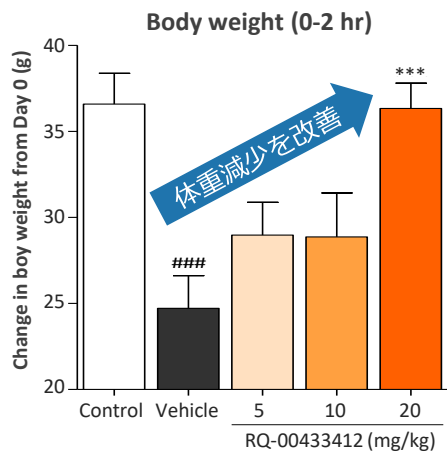
進行がん患者の初診時に約50%、終末期の80%に認められる。グレリン受容体作動薬は視床下部に働きかけ、食欲を増進、脳下垂体からの成長ホルモンの放出を促し、筋肉量増加および体重増加の作用を持つ

● 脊髄損傷に伴う便秘

脊髄損傷者の多くは自律神経の障害により排便障害を患う。既存の緩下剤には下痢の恐れがあるため、より使いやすい排便促進薬が求められている。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

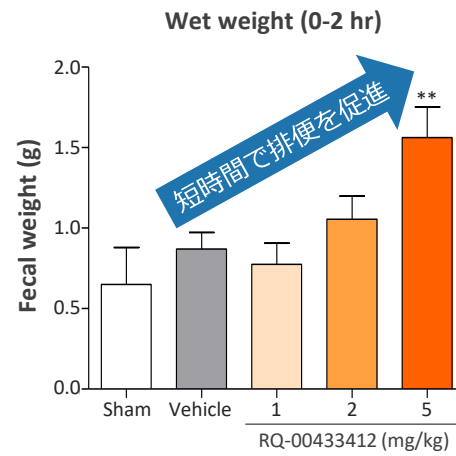


担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



P<0.001 vs. Control, *** P<0.001 vs. Vehicle

脊髄損傷ラットにおけるRQ-00433412の効果



SCI

** P<0.005 vs. Vehicle



RaQualia
innovators for life

事業計画

成長戦略・事業目標・収益計画・事業費用等



中期経営計画の目標設定

収益

2021年12月期から2023年12月期の3期の黒字化

研究

2023年12月期までに開発候補化合物2個を創出

開発

2023年12月期までにグレリン受容体作動薬の前臨床試験終了
2023年12月期までに導出準備プログラムの中から1つ次段階の治験申請

導出

導出準備プログラムおよび新規医薬品候補化合物から
年1件の契約締結

時価総額向上へ



保有パイプラインの前進

導出先との提携・自社開発によって開発段階を上げ、上市により近づける

価値の高い開発候補品の創出

独自性の高い良質な開発候補品を途切れなく創製する

領域の拡充・新技術の獲得

イオンチャネル技術の強化と新技術の獲得を自社内の技術開発と外部提携によって実現する

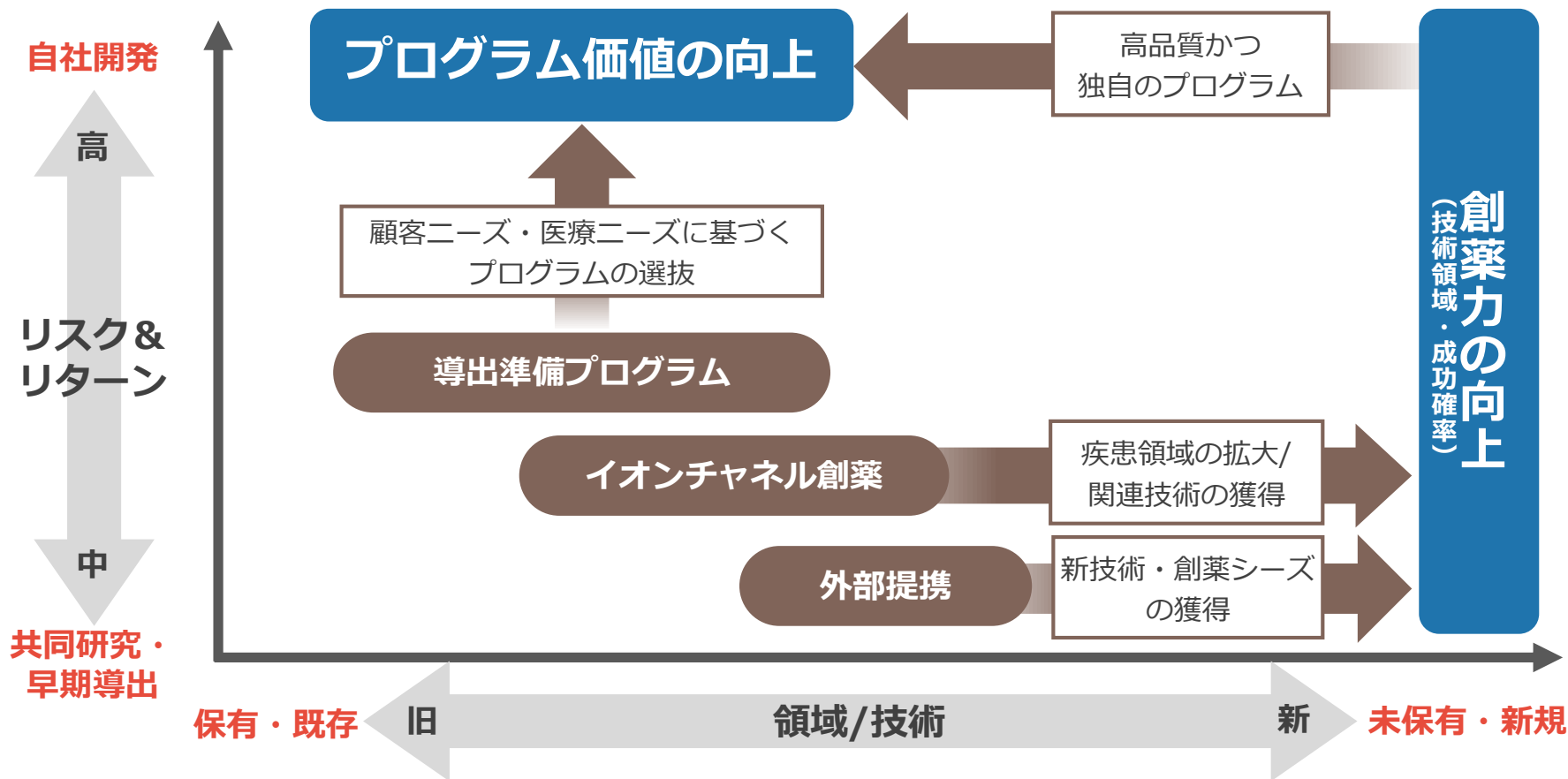


戦略オプションの拡大

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- 価値向上と投資リスクのバランスを見極めた上で、自社開発を実施する
- イオンチャネル創薬の疾患領域の拡大および関連する創薬技術の強化を進める
- 産学連携を含む戦略的な外部提携によって新たな技術・創薬シーズを獲得する



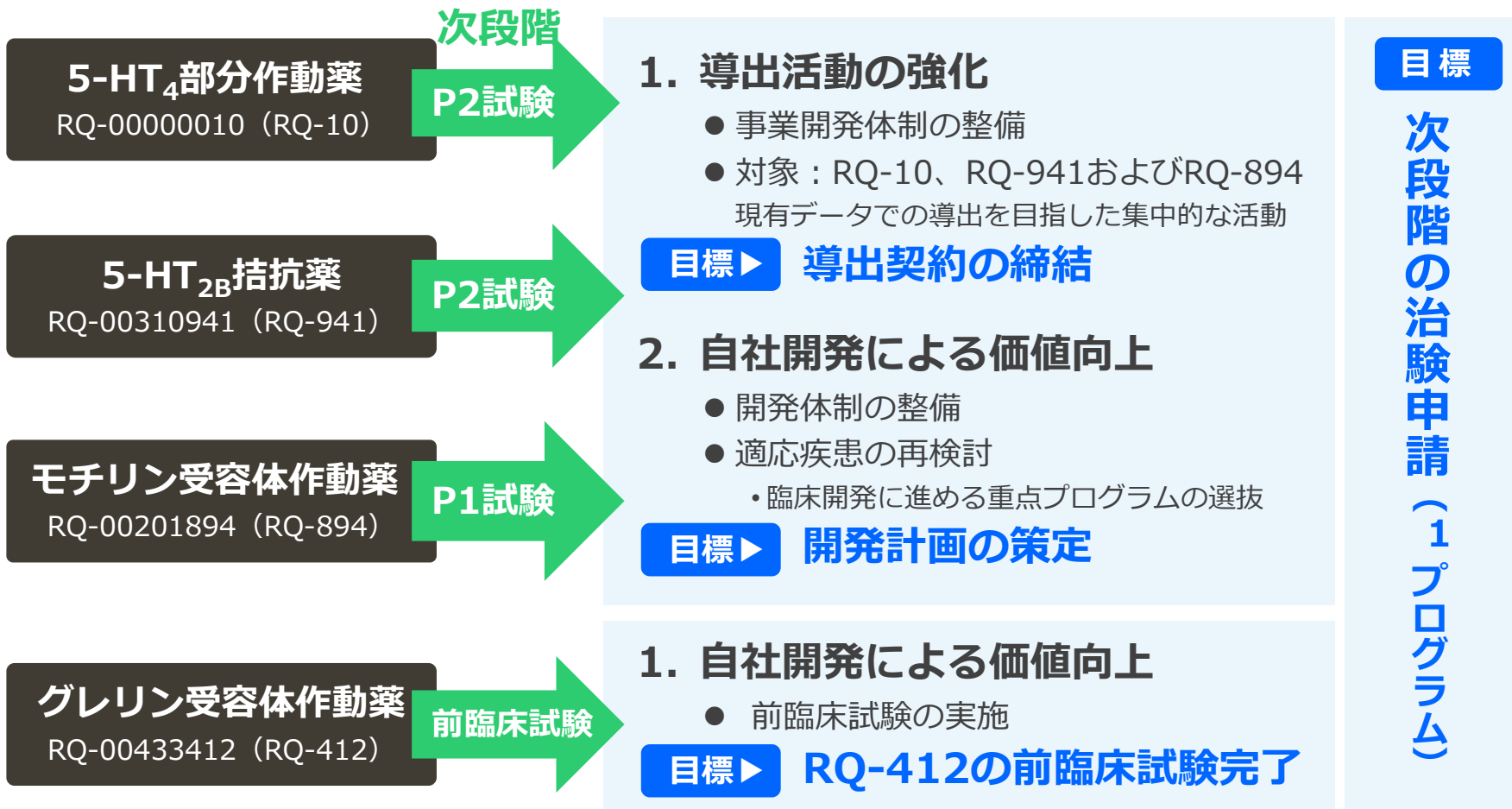


消化器疾患プログラムの加速化

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- 5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬およびモチリン受容体作動薬の導出活動を実施中
- 消化器疾患プログラムから選抜した1プログラムについて、2023年12月期中に次段階の臨床開発に進む予定





探索研究段階の
プログラム数

(標的選択段階のプログラムを除く)

8

2021年12月、新規ナトリウムチャンネル遮断薬
(RQ-00350215) の導出により、
新たに1つの開発化合物の創製に成功

探索研究段階にあるプログラム概要

企業

2

アカデミア

3

単独研究

3

(非開示)

	共同研究相手	疾患	標的分子
企業	あすか製薬	非開示	特定のイオンチャンネル
	インタープロテイン	疼痛	非開示
アカデミア	名古屋大学	心不全	CRHR2
	長崎大学	新型コロナウイルス感染症	非開示
	岐阜薬科大学	網膜静脈閉塞症	非開示

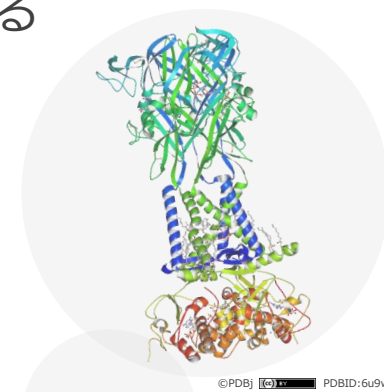


新たな疾患領域への進出

- 神経疾患等の新たな重点疾患領域の選定を実施中
- 2022年からは重点疾患での探索プログラムを充実させる

構造生物学的アプローチの活用

- イオンチャネルの立体構造解析を強化
- 取得した構造情報を化合物デザインに活用する



電気生理評価技術のさらなる強化

- HTSオートパッチクランプシステムの導入
- iPS神経細胞や組織を用いた評価系の充実
 - ・ 細胞・動物からヒトへのトランスレーション
 - ・ 患者病態から細胞モデルへのリバーストランスレーション



全ての取り組みにAIとインフォマティクスを活用する



今期の業績予想および今後の業績目標

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

2021年12月期は**事業収益2,798百万円**を得て**黒字達成**の見通し
2022年からバリューアップのため**自社臨床開発を目指す**

単位：百万円

	計画	目標	
	2021年12月期	2022年12月期	2023年12月期
事業収益	2,798	2,928	3,009
営業利益	707	556	681
経常利益	848	563	686
親会社株主に 帰属する 当期純利益	750	464	561
為替（米ドル/日本円）	110.00	110.00	110.00



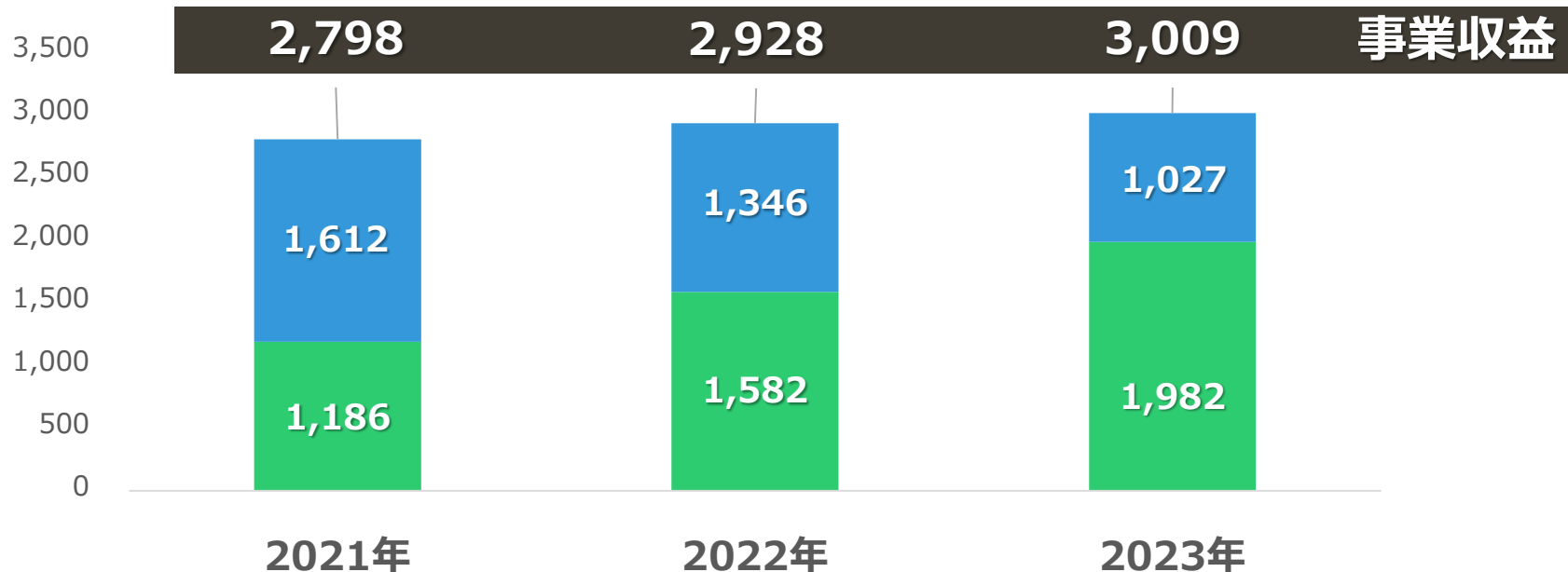
事業収益計画の概要

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

■ ロイヤルティ ■ その他（契約一時金・マイルストーン）

単位：百万円



2021年

テゴプラザンを中心に医薬品の販売が堅調に伸び、販売ロイヤルティが11億円に到達
マイルストーン収入および新たな契約締結の一時金により、その他収入が16億円に到達

2022年

テゴプラザンの韓国売上拡大と中国での上市により、販売ロイヤルティが15億円に到達
その他は、テゴプラザンの中国承認および上市によるマイルストーン受領等

2023年

テゴプラザンを中心に医薬品の販売が堅調に伸び、販売ロイヤルティが19億円に到達
その他は、開発中の医薬品からのマイルストーンや探索段階のシーズの新規契約等（※）

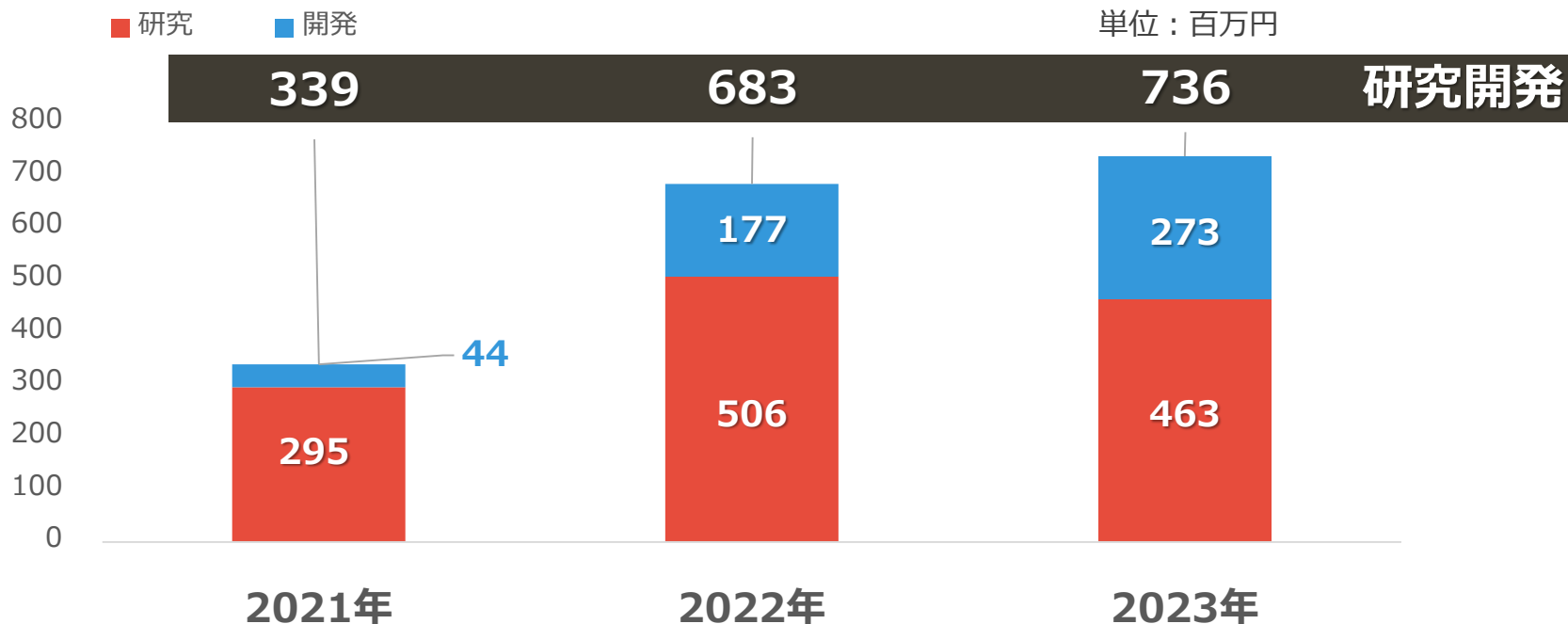
※契約一時金・マイルストンの最大化を目指していますが、現時点では導出先探索中であるため、数値計画上は成功確率等を勘案しております。



研究開発費の概要

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life



2021年

グレリン受容体作動薬の前臨床試験用原薬製造を完了し、前臨床試験に着手。
開発候補化合物創出に向けた取り組みを推進

2022年

自社開発の実施に向け、グレリン受容体作動薬の前臨床試験ほかで177百万円を支出
探索研究プログラムの進展および新領域・新技術開拓を目的として資金を投下

2023年

研究開発費は前年水準からさらに増加（対前年比7.8%増額）
選抜した1プログラムの臨床開発準備費用を中心に開発費273百万円を支出予定

臨床第2相段階以降の臨床開発については、別途資金を確保した上で機動的な予算化と臨床開発を実施する予定です。
本事業計画書における研究開発費は研究開発部門の人員費を含みません。当社では開発候補化合物の前臨床試験以降を「開発」としています。



事業計画見直し前後の差異

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

単位：百万円

見直し前 2021年6月30日公表	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益
2021年度通期（計画）	2,246	2,184	61	184	118
2022年度通期（目標）	2,928	2,372	556	563	464
2023年度通期（目標）	3,009	2,327	681	686	561

見直し後 2021年12月20日公表	事業収益	事業費用	営業利益	経常利益	親会社株主に帰属する 当期純利益
2021年度通期（計画）	2,798	2,090	707	848	750
2022年度通期（目標）	2,928	2,372	556	563	464
2023年度通期（目標）	3,009	2,327	681	686	561

2021年

新たな導出契約締結により、事業収益は前回発表比551百万円（同24.6%）の増加。
委託試験等の研究開発費が翌期にずれ込んだことにより、事業費用は同93百万円（同4.3%）減少。

2022年

変更なし

2023年

変更なし



テゴプラザン：韓国での販売は好調を持続、中国他で上市へ向けて進展

- HKイノエン社によるテゴプラザン（韓国商品名：『K-CAB®』）の韓国における販売は一段と拡大。2021年の院外処方実績は1000億ウォンを突破する見込みで、2022年以降もさらなる伸長が期待される
- 中国においては、HKイノエン社のサブライセンス先であるShandong Luoxin Pharmaceutical Group（Luoxin社（中国））が、2022年に新薬承認を取得し上市する見通し（承認取得目標時期：2022年上半期）。それに伴い、当社はマイルストーン達成に伴う一時金と販売額に応じたロイヤルティを受領する見通し
- 米国においては、HKイノエン社が第1相臨床試験（P1試験）を実施中。2021年12月にBraintree社（米国）へのサブライセンス契約が合意され、今後は、Braintree社が米国およびカナダでの承認取得に向けて臨床開発を行う
- 日本においては、当社とHKイノエン社との協力関係の築き方等を含め、早期の上市に向けた臨床開発の実施に向けたあらゆる可能性について検討中
- 中南米、東南アジアにおいて、HKイノエン社のサブライセンス先が承認申請中あるいは準備中。2023年にはメキシコでの承認取得を目指す
- HKイノエン社がROW（Rest Of World）等でさらにサブライセンス先を開拓、締結へ。2028年にはグローバル100カ国への進出を目標としている



ペット用医薬品は堅調に伸長

- 世界のペット用医薬品市場の伸び（※）と同等以上の高い成長率を期待
- EP4拮抗薬（grapiprant（一般名））：エランコ社による犬の骨関節炎治療薬『GALLIPRANT®』の米国・欧州・日本における販売は順調に拡大。販売地域はさらに拡大する見込み
- グレリン受容体作動薬（capromorelin（一般名））：エランコ社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®』は米国で上市され、今後の売上拡大に期待。販売地域の拡大等の進展があった場合、当社は契約で定めるマイルストーンと販売額に応じたロイヤルティを受領する見込み

※世界のペット用医薬品市場： 2020年に11,832米ドルに達し、年平均成長率6%で2027年には17,603米ドルに達する見込み（Companion Animal Drugs Market Size, Global Forecast Report 2027 (Global Market Insight, 2020)）



その他の導出済みプログラムの開発進展によるマイルストーン収入の獲得を見込む

- EP4拮抗薬：AskAt社の導出先であるIkena Oncology社（米国）とNewBay MT社による臨床開発の進捗に期待。Ikena Oncology社は10-15億円を今後の臨床開発に投資する計画を発表。当社は、臨床開発の進展等に応じてAskAt社がサブライセンス先から得る収益の一定割合を受領する権利を保有（※）
- P2X7受容体拮抗薬：リリー社が第2相臨床試験（P2試験）以降のグローバル開発を準備中
- TRPM8遮断薬：Xgene社が前臨床試験を準備中。開発段階の進展に応じてマイルストーン達成に伴う一時金を受領する権利を保有
- その他の導出済みプログラムについても、進展に応じてマイルストーン達成に伴う一時金が発生する可能性を見込む

新たなライセンス契約締結による一時金収入の獲得

- 導出準備プログラムおよび現在探索研究段階にあるプログラムからの新規医薬品候補化合物について、年1件以上の契約締結により一時金収入を得る計画を設定

（※）一例として、Ikena Oncology社は、AskAt社との契約に基づき、開発の進展に伴うマイルストーンとして最大4百万ドルを支払い、販売後は売上高に応じたロイヤルティのほか販売マイルストーンとして最大600百万ドルをAskAt社に支払う可能性があることを公表しています（出所：Ikena Oncology社 SEC filing (2021年3月5日)）



事業目標・経営指標の進捗状況

- 2021年12月期の事業収益計画は2,798百万円です。
- 2022年12月期の事業収益計画は2,928百万円です。
- 2023年12月期の事業収益計画は3,009百万円です。
- 2023年12月期の終了時までには、開発候補化合物2個の創出、グレリン受容体作動薬の前臨床試験終了、および導出準備プログラムの中から1つ次段階の治験申請を行うことを予定しています。2021年度12月期においては、開発候補化合物1個（新規ナトリウムチャンネル遮断薬）を創出し、グレリン受容体作動薬の前臨床試験に着手しました。
- 各事業年度において、導出準備プログラムおよび新規の開発候補化合物から年1件の導出契約締結を予定しています。2021年12月期においては、2件の導出契約を締結しました。

「事業計画及び成長可能性に関する事項」開示の予定時期

- 次回の開示は、2022年2月を予定しております。



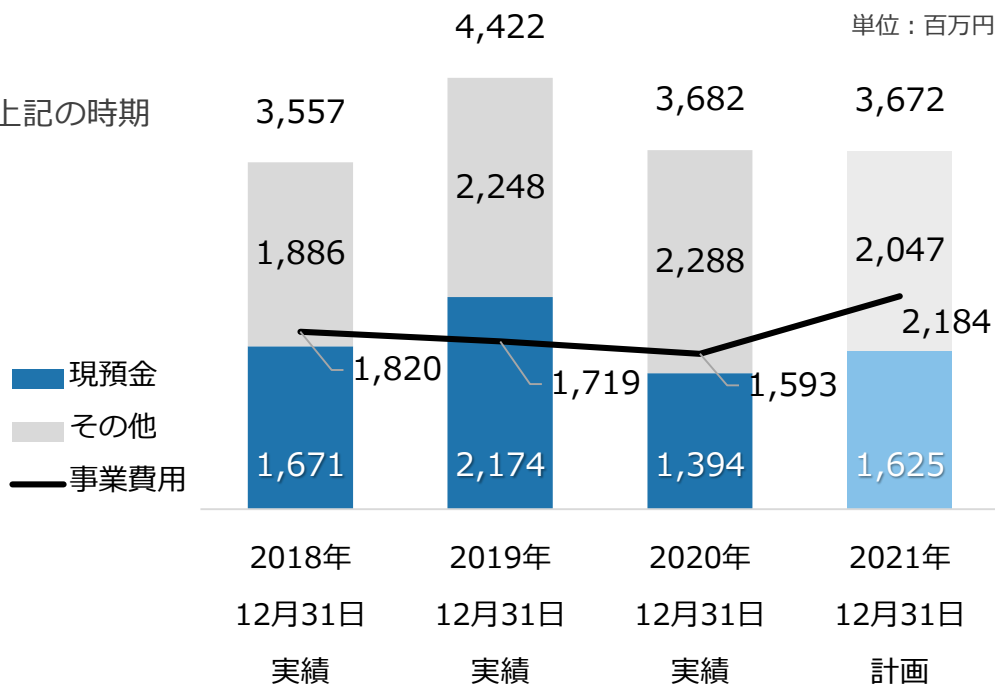
- 現状の事業費用に対する資金残高は十分に確保
- 今後の課題は、非連続な成長を達成するための戦略的選択肢を拡大するための資金調達
- 以下記載の事項を前提に検討中

時期 … 黒字化による時価総額の向上後

用途 … 臨床開発、設備投資、
パイプライン導入等

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

資金残高と事業費用



※資金残高は投資有価証券と売掛金を含んだものです。



RaQualia
innovators for life

事業リスク

事業リスクおよび免責事項



主要なリスク	リスクの内容	リスク顕在化の可能性・時期
医薬品の研究開発を取り巻く環境	一般的に、医薬品の研究開発には、長期間の研究開発期間と巨額の費用が必要とされる一方、成功確率はきわめて低いものとされております。また、研究開発、製造および販売等の事業活動において、各国の法規制の影響を強く受けております。品質、有効性および安全性等において医薬品としての有用性を示せず開発が中止される可能性、法規制の国ごとの差異等により開発の遅延や費用の増大が発生する可能性があります。	低・全期間
競合	多くの製薬会社や創薬ベンチャー企業等による研究開発活動が行われており、当社グループの研究開発との間に競合関係が存在しております。競合品の存在やその他の研究開発の進捗等が当社グループの開発化合物の導出等に影響を及ぼす可能性があります。	中・全期間
導出等による収益獲得	一般的に、製薬会社等における共同研究の実施や導入の評価・判断は、個々の製薬会社等により異なります。当社グループが契約締結を企図するプログラムや開発化合物が製薬会社等における導入や当社グループとの業務提携の目的を充足する保証はなく、企図した時期に契約締結に結びつかない、または契約条件が当社グループの想定と異なる等の可能性があります。	中・全期間
為替リスク	当社グループは事業活動をグローバルに展開しており、海外での研究開発活動や海外企業とのライセンスにおいて外貨建取引が存在します。そのため、急激な為替変動によって為替リスクが顕在化する可能性があります。	低・全期間

※その他のリスクについては、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。



主要なリスク	リスクの対応策
医薬品の研究開発を取り巻く環境	最新の創薬技術の導入と医療ニーズをとらえた研究開発計画によって、成功確率の向上に努めるとともに、リスクとリターンに応じたポートフォリオ戦略により、リスクの分散化と最小化に努めます。 各国の法規制による影響については、レギュレーションに関する情報の取得と現地導出先とのコミュニケーションを適切に行うことでリスクを予見し回避します。
競合	治療法が確立されておらず未充足の医療ニーズが残されている疾患を標的とすること、自社開発および戦略的な提携によって技術的な優位性を確保すること、効率化を進め研究開発の速度を上げることで競合企業よりも先んじること等によって、競争によって収益機会を損失するリスクを低減します。
導出等による収益獲得	競合リスクへの対応策と同様に、未充足の医療ニーズが残されている疾患を標的とすることや、技術的な優位性によって良質の開発化合物を創出することで、幅広い顧客の評価・判断の基準を満たすことを目指します。また、一定水準の研究開発プログラム数を確保し、開発候補品を生み出すことで、リスクの分散化を図ります。さらに、臨床試験等を当社グループが実施することで承認取得までの成功確率の向上と期間の短縮を図ることで、当社の保有する開発化合物/プログラムの価値を高め、契約一時金、マイルストーン輸入、販売ロイヤルティ等の収益性を高めます。
為替リスク	複数の異なる通貨で資金を保有することで急激な為替変動に備えます。



RaQualia
innovators for life

その他補足情報①

(その他の経営上の重要な契約の一部抜粋)



① EP4拮抗薬 (RQ-00000007、grapiprant)

契約書名	EXCLUSIVE IP LICENSE AGREEMENT FOR RQ-00000007 (導出契約)
契約先	Aratana Therapeutics, Inc. (米国、現Elanco Animal Health, Inc. (米国))
契約締結日	2010年12月27日
契約期間	契約締結日から契約所定の条項により解除されるまで
主な契約内容	<p>① 当社は、Aratana Therapeutics, Inc. (米国) に対して、grapiprantの全世界における動物用医薬品としての開発、販売及び製造の再実施許諾権付独占実施権を許諾する。</p> <p>② 当社は、既に保有する原薬及び製剤の一定量を、臨床試験用としてAratana Therapeutics, Inc. (米国) に無償で供給する。</p> <p>③ 当社は、上記①及び②の対価として、本契約の締結に伴う契約一時金収入、開発ステージに応じたマイルストーン収入及び製品販売高に応じたロイヤルティ収入を受領する。</p>

② グレリン受容体作動薬 (RQ-00000005、capromorelin)

契約書名	EXCLUSIVE IP LICENSE AGREEMENT FOR RQ-00000005 (導出契約)
契約先	Aratana Therapeutics, Inc. (米国、現Elanco Animal Health, Inc. (米国))
契約締結日	2010年12月27日
契約期間	契約締結日から契約所定の条項により解除されるまで
主な契約内容	<p>① 当社は、Aratana Therapeutics, Inc. (米国) に対して、グレリン受容体作動薬 (capromorelin) の全世界における動物用医薬品としての開発、販売及び製造の再実施許諾権付独占実施権を許諾する。</p> <p>② 当社は、既に保有する原薬及び製剤の一定量を、臨床試験用としてAratana Therapeutics, Inc. (米国) に無償で供給する。</p> <p>③ 当社は、上記①及び②の対価として、本契約の締結に伴う契約一時金収入、開発ステージに応じたマイルストーン収入及び製品販売高に応じたロイヤルティ収入を受領する。</p>



③カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（RQ-00000004、tegoprazan及びRQ-00000774）

契約書名	LICENSE AGREEMENT（導出契約）
契約先	CJ HealthCare Corporation（韓国、現HK inno.N Corporation（韓国））
契約締結日	2010年9月3日
契約期間	契約締結日からCJ HealthCare Corporation（韓国）による当社へのロイヤルティ支払い義務が終了するまで
主な契約内容	<p>① 当社は、CJ HealthCare Corporation（韓国）に対して、tegoprazan及びRQ-00000774の韓国、中国（香港を含む）及び台湾地域におけるヒト用医薬品としての開発、販売及び製造の再実施許諾権付独占実施権を許諾する。</p> <p>② 当社は、CJ HealthCare Corporation（韓国）にバックアップ化合物について、上記①と同様の権利を保証するオプション権を許諾する。</p> <p>③ 当社は、上記①及び②の対価として、本契約の締結に伴う契約一時金収入、開発ステージに応じたマイルストーン収入及び製品販売高に応じたロイヤルティを受領する。</p>

このほか、関連する契約として、当社は、CJ HealthCare Corporation（韓国、現HK inno.N Corporation（韓国））との間で、東南アジア、中南米、中東、CIS加盟国、北米及び欧州地域における同様の権利許諾を行う契約3件を締結しています（契約締結日：2014年11月27日、2017年12月28日及び2019年11月26日）



④ 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬

契約書名	ライセンス契約
契約先	マルホ株式会社
契約締結日	2017年12月25日
契約期間	契約締結日からマルホ株式会社による当社へのすべての支払い義務が終了するまで
主な契約内容	<p>① 当社は、マルホ株式会社に対して、選択的ナトリウムチャンネル遮断薬の全世界における医薬品としての開発、販売及び製造の再実施権付独占実施権を許諾する。</p> <p>② 当社は、上記対価として、本契約の締結に伴う契約一時金、開発ステージに応じたマイルストーン及び製品販売高に応じたロイヤルティを受領する。</p>

⑤ P2X7受容体拮抗薬

契約書名	ライセンス契約
契約先	旭化成ファーマ株式会社
契約締結日	2018年3月26日
契約期間	契約締結日から旭化成ファーマ株式会社による当社へのロイヤルティ支払義務が終了するまで
主な契約内容	<p>① 当社は、旭化成ファーマ株式会社に対して、P2X7受容体拮抗薬の全世界を対象とした開発、販売及び製造の再実施権付独占実施権を許諾する。</p> <p>② 当社は、上記対価として、本契約の締結に伴う契約一時金、開発ステージに応じたマイルストーン及び製品販売高に応じたロイヤルティを受領する。</p>



権利の譲渡に関する契約

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

契約書名	SALE AND PURCHASE AGREEMENT（権利売買契約）
契約先	株式会社AskAt
契約締結日	2013年1月29日
契約期間	契約締結日から契約所定の条項により解除されるまで
主な契約内容	① 当社は、株式会社AskAtに対して、EP4拮抗薬（RQ-00000007、grapiprant）に関するすべての知的財産権を譲渡する。 ② 本契約の締結に伴い、当社は、本契約締結の対価として、株式会社AskAtがRQ-00000007（grapiprant）により得た収益の一定料率をロイヤルティ収入として受領する。

このほか、類似の契約として、当社は、株式会社AskAtとの間で、EP4拮抗薬（RQ-00000008）、シクロオキシゲナーゼ-2（COX-2）阻害薬（RQ-00317076）、5-HT4部分作動薬（RQ-00000009）及びCB2作動薬プロジェクトに関する知的財産権、データ及び/又は化合物原体を譲渡することを定めた契約3件を締結しています（契約締結日：2013年1月29日、2013年1月29日、2013年1月29日及び2015年11月1日）

株式会社AskAtが行ったサブライセンスの主要なものを下表に示します。当社は上記契約に基づき、同社がサブライセンス先から得る収益（契約一時金、開発段階の進展に伴うマイルストーン、販売額に応じたロイヤルティ等）の一定割合をロイヤルティ収入として受領する権利を保有しています。

プログラム	主な対象疾患	開発地域	開発会社
EP4拮抗薬	がん	米国	Ikena Oncology Inc.（米国）（「Ikena Oncology社」）
		中国	Ningbo NewBay Medical Technology Development Co., Ltd.（中国）（「NewBay MT社」）
	疼痛	中国	3D Medicines Co., Ltd.（中国）（「3DM社」）
COX-2阻害薬	疼痛	中国	同上
CB2作動薬	疼痛	英国	Oxford Cannabinoid Technologies Ltd.（英国）（「OCT社」）



権利の再許諾に関する契約

契約書名	ライセンス契約（再許諾契約）
契約先	Meiji Seikaファルマ株式会社
契約締結日	2011年3月14日
契約期間	契約締結日から契約所定の状況による解約を除き、日本での販売を中止する日まで
主な契約内容	<p>① 当社は、Meiji Seikaファルマ株式会社に対して、「ZIPRASIDONE HCL / ZIPRASIDONE MESYLATE MARKETING RIGHTS AGREEMENT」によりPfizer Inc.（米国）より許諾を受けているジプラシドン塩酸塩・ジプラシドンメシル酸塩の日本における開発、販売及び製剤の製造の再実施許諾権付独占実施権を許諾する。</p> <p>②当社は、上記①の対価として、本契約の締結に伴う契約一時金収入、開発ステージに応じたマイルストーン、及び製品販売高に応じたロイヤルティを受領する。また、日本国内での医薬品販売高が一定金額を超えた場合には、インセンティブを受領する。</p>



RaQualia
innovators for life

その他補足情報②

(標的疾患の市場性に関する補足情報)



疼痛¹⁾

医療ニーズ	身体組織の損傷の結果生じる侵害受容性疼痛、中枢神経または末梢神経の障害による神経障害性疼痛、原因が見つからないが長期間続く慢性疼痛などに分類される。既存薬には、非ステロイド性抗炎症薬 (NSAID)、非オピオイド鎮痛薬、オピオイド (麻薬系) 鎮痛薬などがあるが、鎮痛効果の不足、副作用 (消化器・腎臓等)、依存・乱用などの問題があり、これらの問題を克服する新たな治療選択肢が強く求められている。
患者数	慢性的に痛みを抱えている成人が米国では5,000万人、国内では2,300万人を超えると推計。
市場規模	世界の疼痛治療薬市場は大きく現在も拡大傾向。 主な標準治療薬の世界売上高 ^{2,3)} : プレガバリン (3,620億円)、セレコキシブ (1,275億円)、デュロキセチン (1,052億円)、ジクロフェナク (455億円)

便秘症治療薬¹⁾

医療ニーズ	便秘とは本来対外に排出すべき糞便を十分量かつ快適に排出できない状態。既存の治療薬に満足していない患者は多く、慢性的な便秘を呈する患者はQuality of Life (QOL) の著しい低下があり、生産性の損失と医療経済への負荷を招いている。高齢者の便秘症への適切な処方が求められているが、塩類下剤として汎用されている酸化マグネシウムには高齢者は腎機能障害者における高マグネシウム血症の報告もある。
患者数	米国の成人患者数は4200万人。国内では継続的に治療を受けている患者数21万9000人 ⁴⁾ だが、医療機関を受診していない潜在患者を含むと1,000万人の患者がいると推計。
市場規模	世界市場: 60億ドル; 日本国内市場: 600億円 主な標準治療薬 ^{2,3)} : リナクロチド (957億円)、ルビプロストン (461億円)、大建中湯 (104億円)

1) データ出所: 日経バイオ年鑑 (日経BP社、2020年); 2) 2019年度; 3) 一般名で表記; 4) 厚生労働省「平成29年 (2017) 患者調査の概況」



アルツハイマー型認知症¹⁾

医療ニーズ	要介護者になる原因の1位が認知症（2019年国民生活基礎調査）。うち約60%がアルツハイマー型認知症。アルツハイマー型認知症は発症後の余命が10年以上と長く、医療・介護にかかる全費用は一人あたり2億円に上るとの試算もある。家族・近親者の負担とQuality of Life (QOL) の点からも薬剤が強く望まれている。
患者数	世界では4,680万人 ²⁾ 、国内の患者数は2025年には420万人 ³⁾ まで増加すると推定。加齢と正の相関があるアルツハイマー型認知症の患者数は今後さらに増える見通し。
市場規模	世界市場：20億ドル；日本国内市場：1,000億円 主な標準治療薬 ^{4,5)} ：ドネペジル（349億円）、アデュカヌマブ（2021年承認）

統合失調症治療薬¹⁾

医療ニーズ	幻聴、幻視、妄想等の陽性症状と意欲低下等の陰性症状がある。平均在院日数が531.8日と長く、全疾病の平均である29.3日の18倍。WHOによると患者の半数以上が未治療の状態に置かれている。近年、陽性症状と陰性症状の両方に効果を示し、副作用が少ない非定型精神薬が主流となっている。服薬アドヒアランスが悪い疾患であり、持効性注射剤が台頭している。
患者数	世界では2,088万3,000人 ²⁾ 、国内で継続的に治療を受けている患者数は79万2,000人。
市場規模	世界市場：100億ドル；日本国内市場：900億円 主な標準治療薬 ^{4,5)} ：パリペリドンパルミチン酸エステル（110億円）、ルラシドン（93億円）、エビリファイ（125億円）、ジプレキサ（100億円）（売上高はいずれも国内のみ）

1) データ出所：日経バイオ年鑑（日経BP社、2020年）；2) 「GBD 2016 Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators. Lancet 390, 1211-59 (2017)；3) 厚生労働省「平成29年（2017）患者調査の概況」；4) 2019年度；5) 一般名で表記；6) 厚生労働省「平成29年（2017）患者調査」



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

私たちは創薬を通じて健康と幸せに貢献し、
人々の心に陽をもたらします



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社