



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 (2022年12月期～2024年12月期)

中期経営計画2022-2024

2022年2月14日 東証ジャスダック グロース (※) : 4579

※ 2022年4月の市場区分変更に伴い東証グロースとなります。

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、本資料内の免責事項を必ずご参照ください。



RaQualia
innovators for life

エグゼクティブサマリー

本事業計画のポイント



1

創業以来初の 黒字化達成

- 創業以来初の営業黒字化を公約通り達成
- 新経営陣のもと、営業黒字を上積み
- 今後も黒字を維持しつつ、さらなる成長のための投資も実施

2

テゴプラザン グローバル成長

- 導出先のHKイノエン社が韓国で売上高約100億円を達成
- 中国、北米などグローバル2兆円の市場のシェア獲得を狙う

3

研究開発 投資の拡大

- 成長ドライバー品目への戦略的投資
- 将来の株主利益を最大化するため、テゴプラザンの臨床試験実施を中心として研究開発投資を積み増し



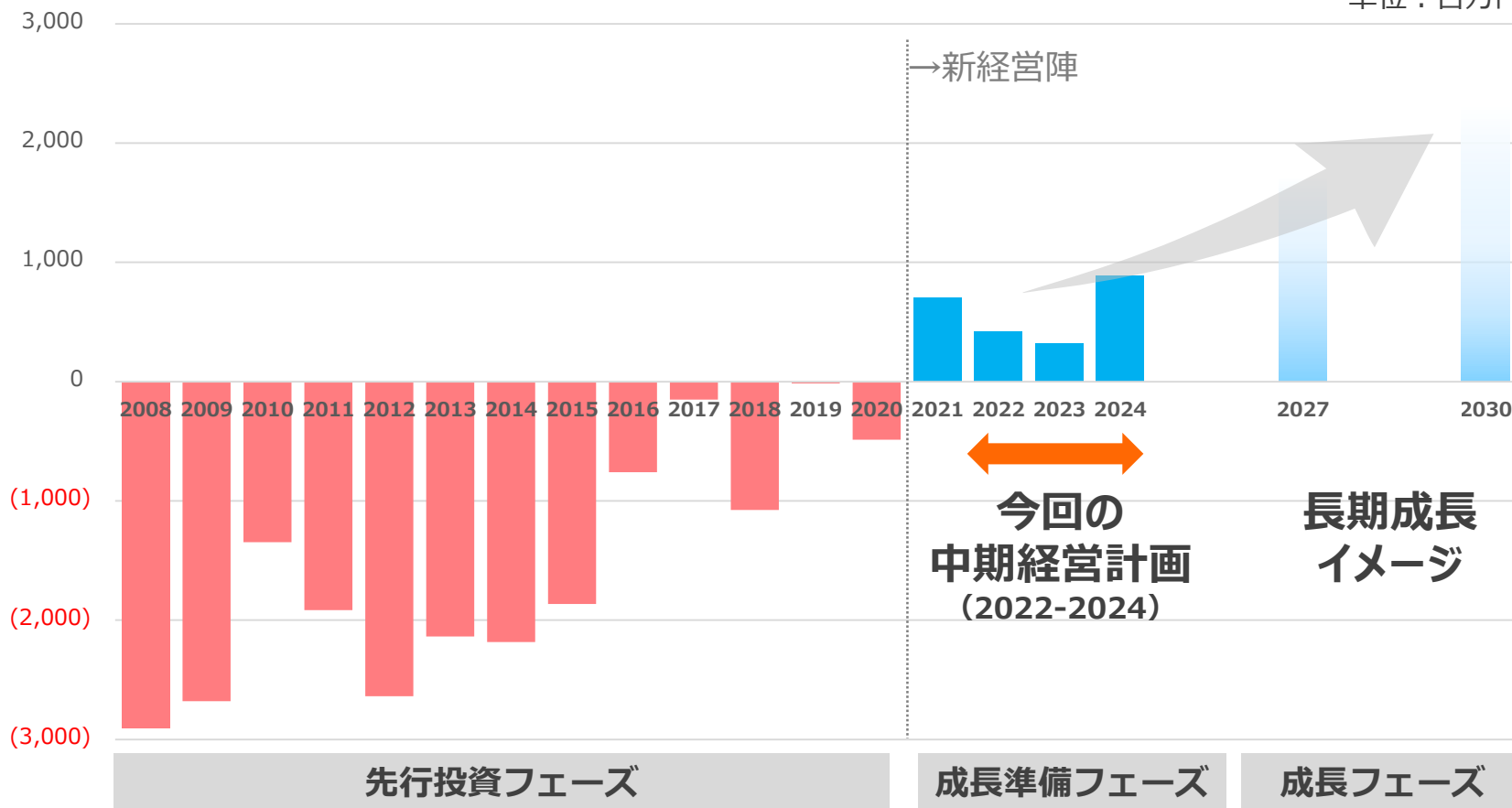
2021年12月期に創業以来初の黒字化を達成

事業計画および
成長可能性に
関する事項

- 2021年12月期に赤字を脱却し黒字化達成（期初営業利益4.2億円→7.0億円に上方修正）
- 黒字化を定着させつつ2024年からさらなる成長へ

ラクオリア創薬 営業利益の推移

単位：百万円



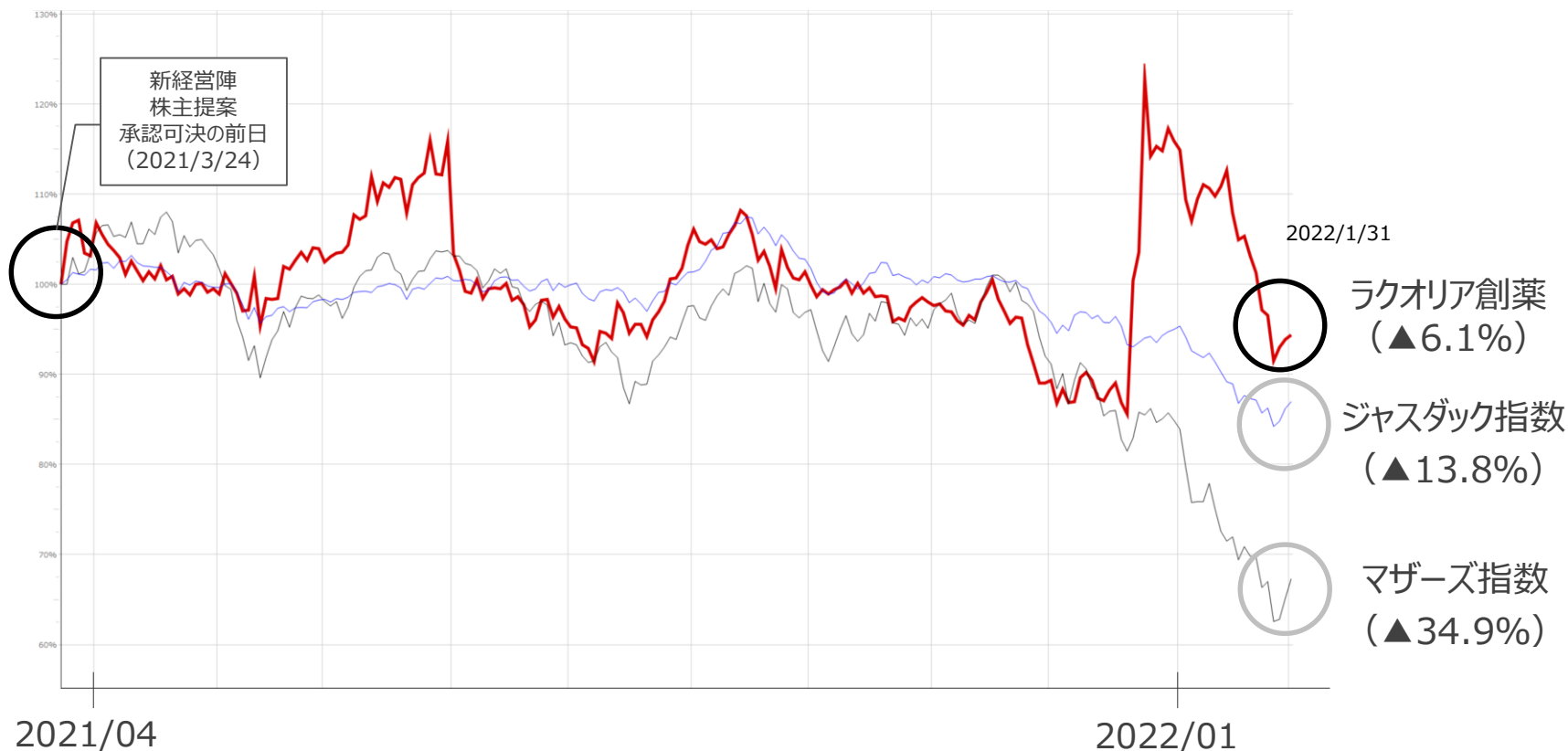


株価推移は新興株式市場の動きに連動しつつも 相対的には平均を上回る株価パフォーマンス

- 新興株式市場が下落基調である中、対ジャスダック指数+7.7% 対マザーズ指数+28.8%
- 相対的には平均を上回っている

ラクオリア創薬 相対株価

(対ジャスダック指数およびマザーズ指数。2021/3/24の値を100として指数化)





経営陣交代後の主な取り組み

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

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

当社バリューチェーンに取り込む次世代創薬技術のコンセプト検証

領域の拡大

AIを活用した神経疾患を中心とする新規標的の探索

次世代自社創薬
バリューチェーン
の構築へ

開発

機能拡充

臨床開発部長の採用

既存PG¹⁾の
価値向上

社内WG²⁾とアドバイザーによる既存PGのバリューアッププランの検証

テゴプラザン
臨床薬理試験(日本)

グレリン受容体
作動薬前臨床試験

導出

TRPM8
遮断薬

Xgene Pharmaceutical Co. Ltd. への導出

ナトリウム
チャンネル
遮断薬

久光製薬株式会社への導出

次の新規導出契約
の締結に向けて
営業活動中

1) PG: プログラム; 2) WG: ワーキンググループ



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

2022年12月期は**事業収益2,605百万円**を見込む

2022年から2023年にかけては、2つのプログラムで**自社開発を進めるため事業費用が増加**するが、安定的な事業収益の確保により**3期連続の営業黒字**を見込む

単位：百万円

	実績	計画	目標	
	2021年 12月期	2022年 12月期	2023年 12月期	2024年 12月期
事業収益	2,776	2,605	2,926	3,362
事業費用	2,068	2,184	2,607	2,475
営業利益	707	420	318	886
経常利益	863	420	313	874
親会社株主に 帰属する 当期純利益	755	342	206	678
為替想定 (米ドル/日本円)	110.00	110.00	110.00	110.00



事業計画の見直しについて

事業計画および
成長可能性に
関する事項

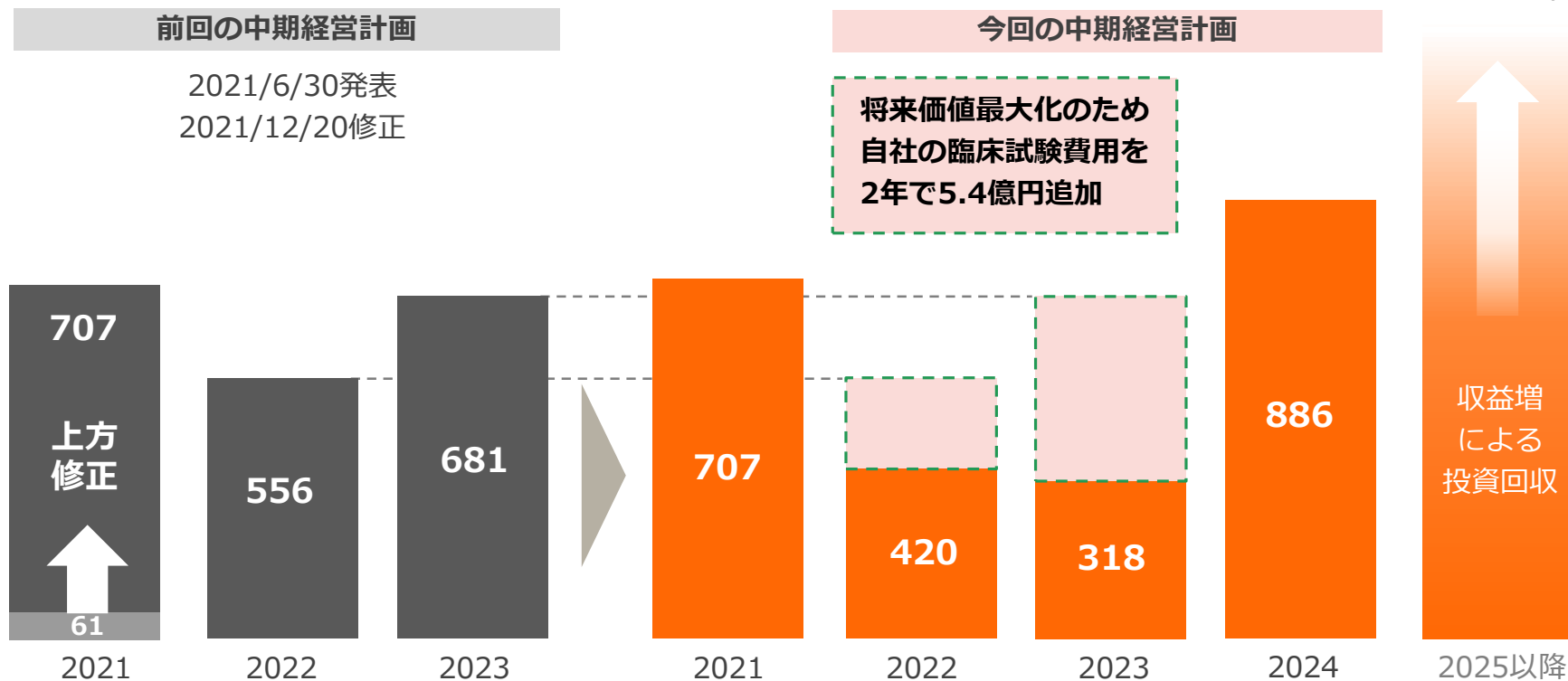
RaQualia
innovators for life

テゴプラザンの将来価値を最大化するため、国内は自社で臨床薬理試験を実施

- 2022年-2024年の研究開発費 (※) 2,393百万円を投資
- テゴプラザンの日本導出目標時期を従来計画の2022年度から2024年度に変更

中期経営計画における営業利益

(単位：百万円)



※本事業計画書における研究開発費は研究開発部門の人件費を含みません。



テゴプラザン (K-CAB[®]) の韓国販売好調

事業計画および
成長可能性に
関する事項

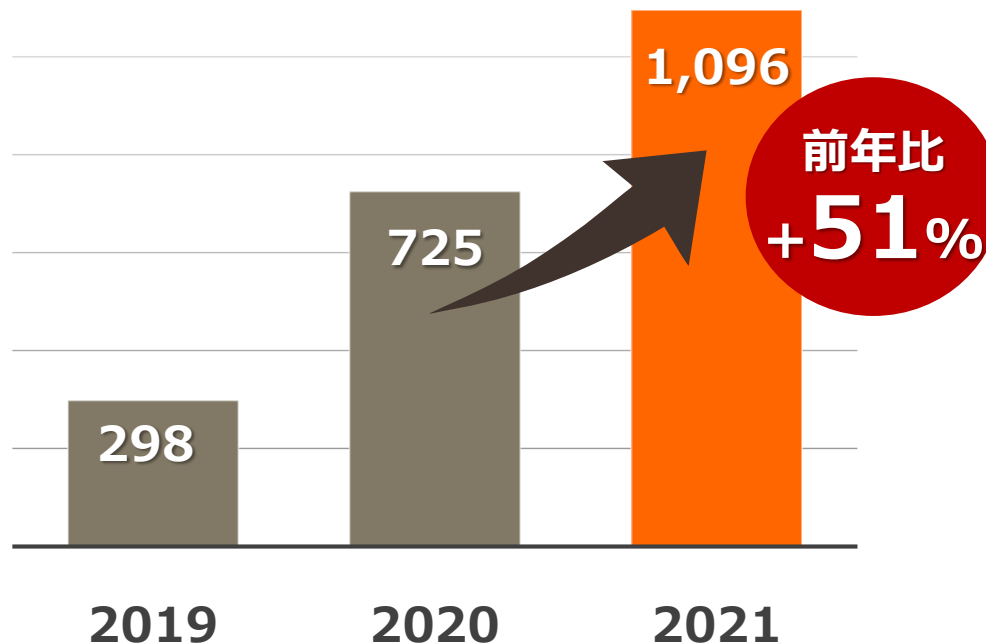
RaQualia
innovators for life

K-CAB[®]の韓国販売は好調に推移

- 2021年の販売額（院外処方データ）1,096億ウォン（約105億円）
- 年平均成長率 72%（2019年～2021年）

「K-CAB[®]」の韓国売上高の推移

（単位：億ウォン）



出所：UBIST院外処方データ

換算レート：1韓国ウォン=0.096円



消化性潰瘍薬のグローバルの潜在市場は 2兆円

当社のライセンス先であるHKイノエン社は2028年までに100カ国への進出を目指す

韓国のほか **27** カ国において開発・承認審査が進行中

国・地域	段階	発売年（見込み）	市場規模
韓国	販売中	2019年（済）	580億円（6,000億ウォン）
中国	審査中	2022年	3,100億円（170億元）
米国	フェーズ1実施中 サブライセンス契約締結	非開示	4,000億円
カナダ	サブライセンス契約締結	非開示	
モンゴル	承認取得	2022年	非開示
東南アジア	審査中	非開示	400億円（370万ドル）
中南米	審査中（メキシコ） 申請準備中（その他16カ国）	2023年（メキシコ） その他非開示	非開示

出所：HKイノエン社発表

換算レート：1 韓国ウォン=0.096円、1 米ドル=110円、1 中国元=18円

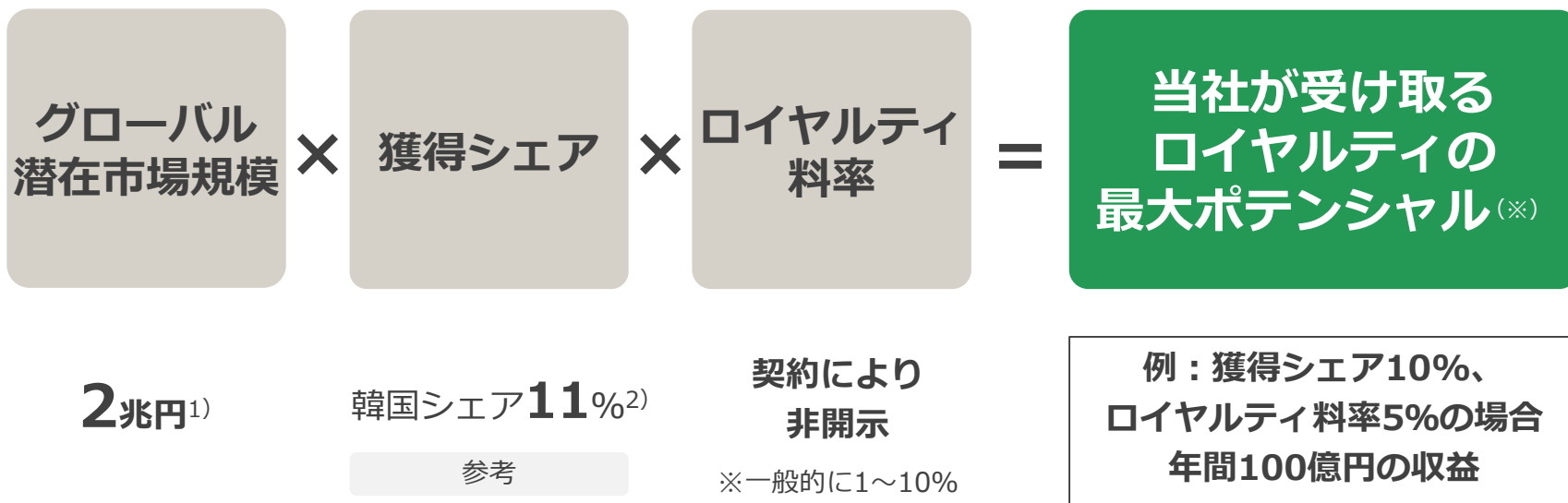


販売地域の拡大により当社が受け取る収益は拡大する

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

当社の2008年創業時より、長きにわたって研究開発投資を続けてきた
テゴプラザンは、これより長期的な投資回収期に入る



※あくまで試算であることにご注意ください。実際の市場規模、獲得シェアおよびロイヤルティ料率により、当社が受け取るロイヤルティは変動します。

データ出所：1) HKイノエン社資料およびBCC Research；2) HKイノエン社発表（2021年11月に消化性潰瘍薬のシェア11%；2022年1月 JPモルガンミーティング）



イオンチャネル創薬のたしかな実績

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

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	2013年 共同研究 フェーズ2準備中
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	2017年 導出 開発段階非開示
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	2012年 共同研究 開発段階非開示
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	2021年 導出 前臨床準備中
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	2021年 導出 前臨床準備中

※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



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

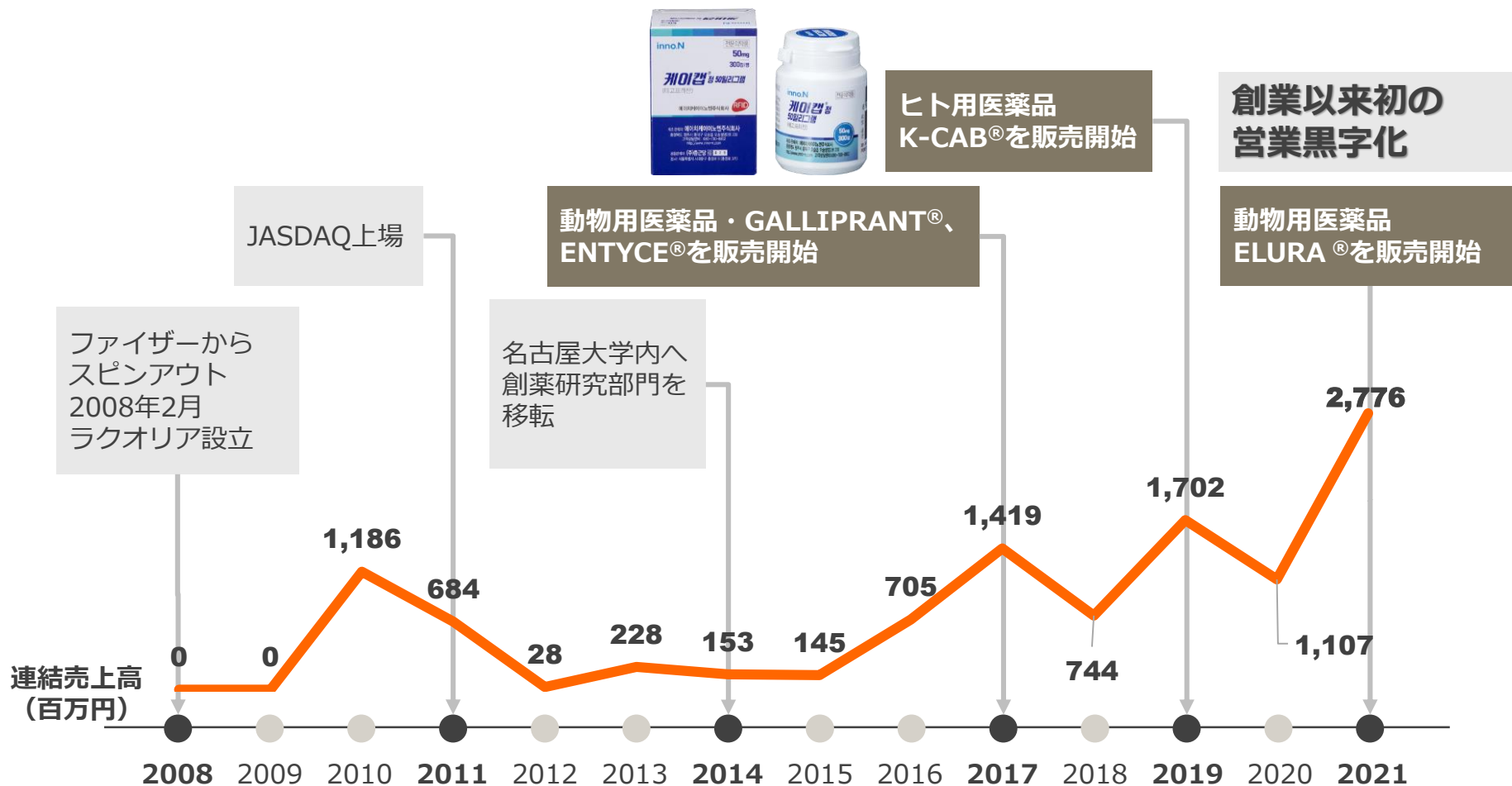


創薬企業としての成長の軌跡

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を上市し、さらに2021年度において創業以来初となる営業黒字化を果たすことができました





RaQualia
innovators for life

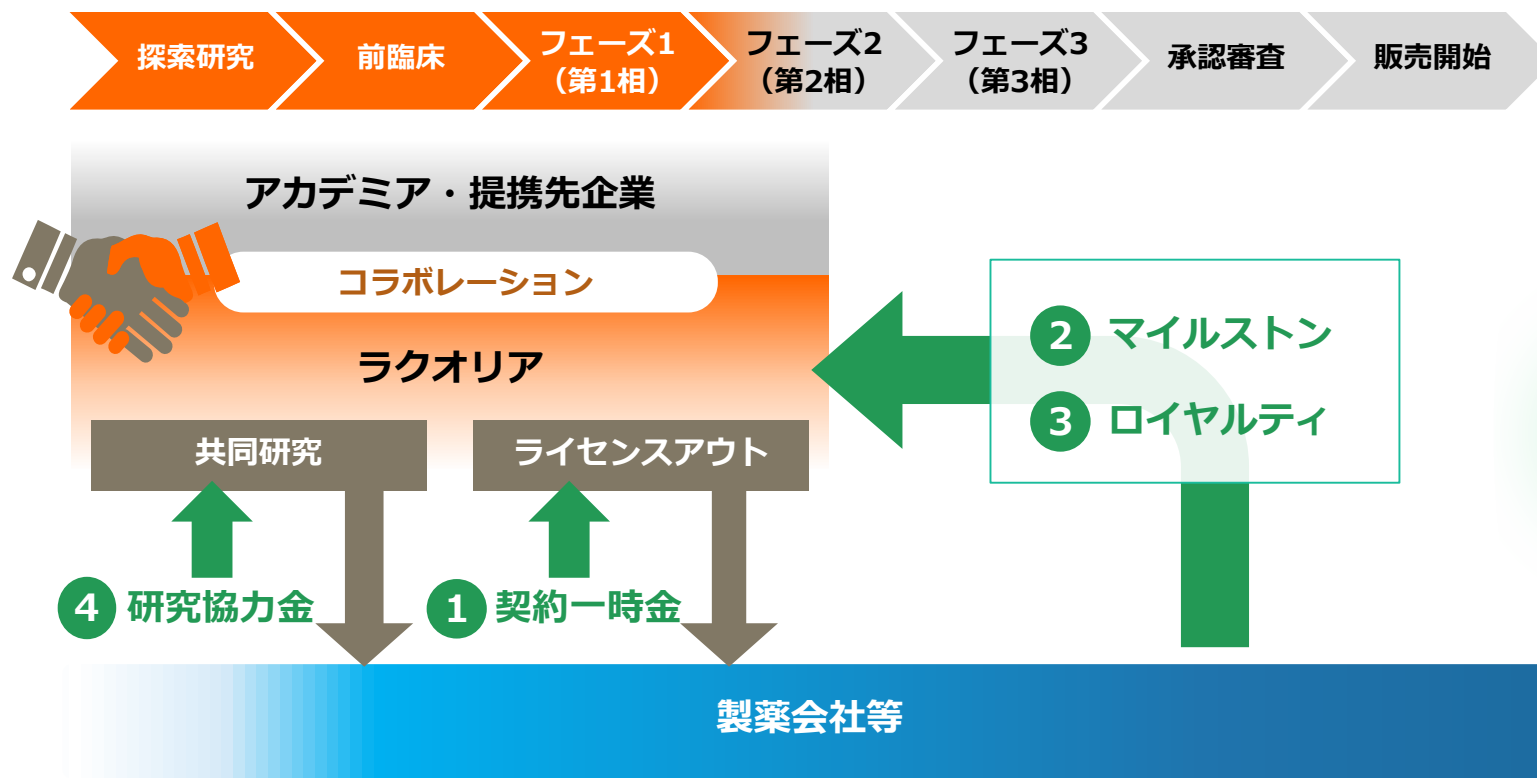
ビジネスモデル

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



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

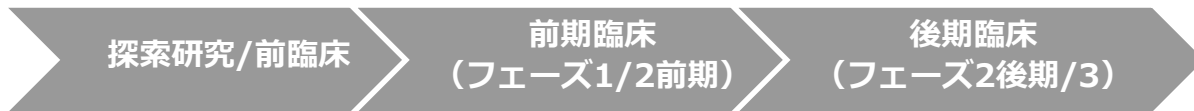
事業リスクの分散化と新薬のシーズの共有のために
創薬ベンチャーが果たすべき役割は大きく、
これからも拡大し続けると予想される



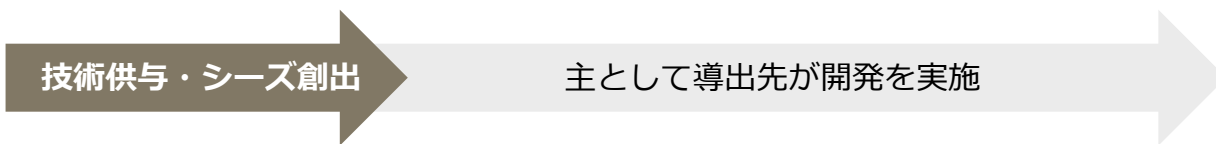
製薬協ガイド2021（日本製薬工業協会、2021年）を参考に当社作図



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

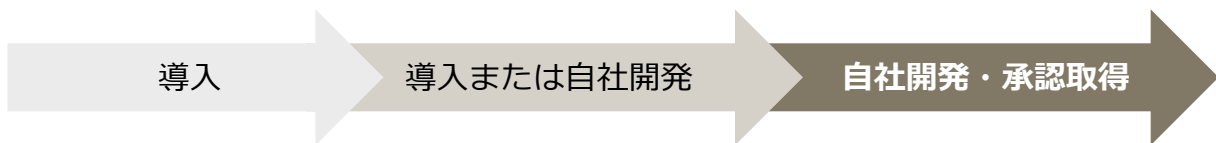
✓ パイプライン型



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



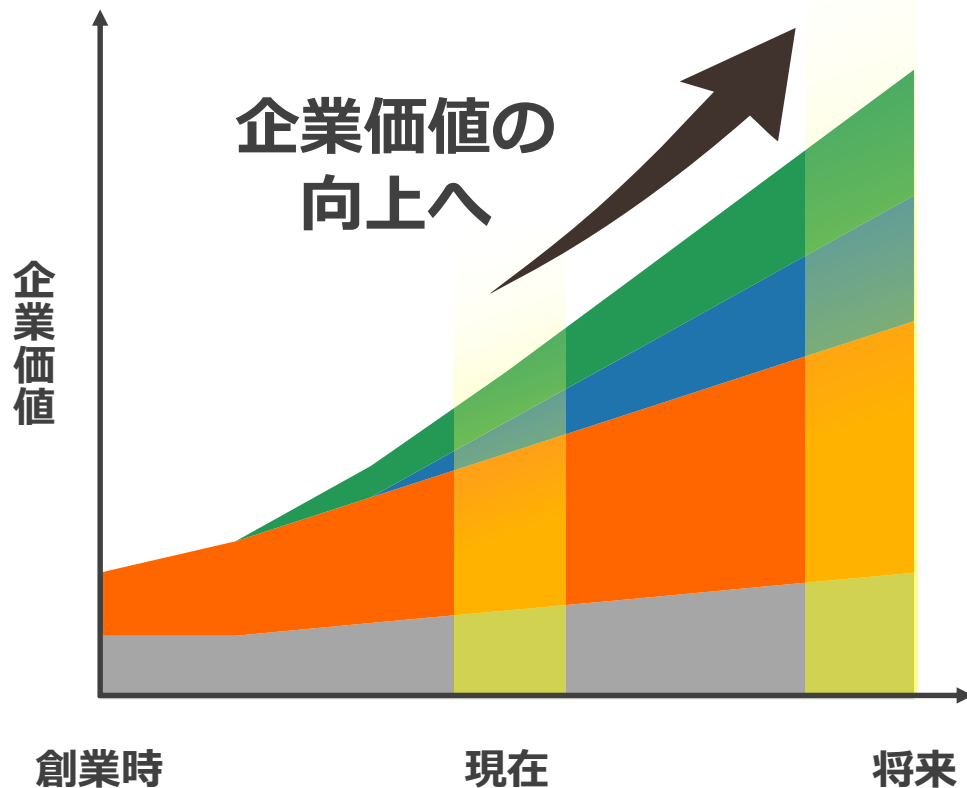
当社の成長戦略と施策

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 (※)

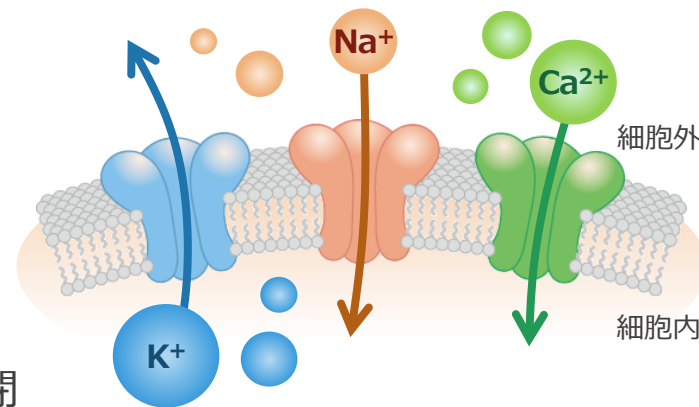
海外展開	目的会社の 設立 (開発SPC等)
専門領域への展開	
オープンイノベーションによる ナレッジの拡充	共同 研究 開発 M & A
基礎研究の事業化	
✓ 新たな疾患領域への進出	
✓ 自社臨床開発の拡大	
✓ 適応拡大	
✓ Life Cycle Management	
設備投資	
資金調達	

※「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、2022年度から2024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



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



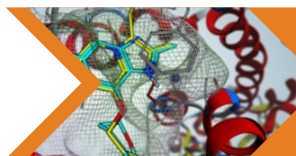
充実したイオンチャネル評価系

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



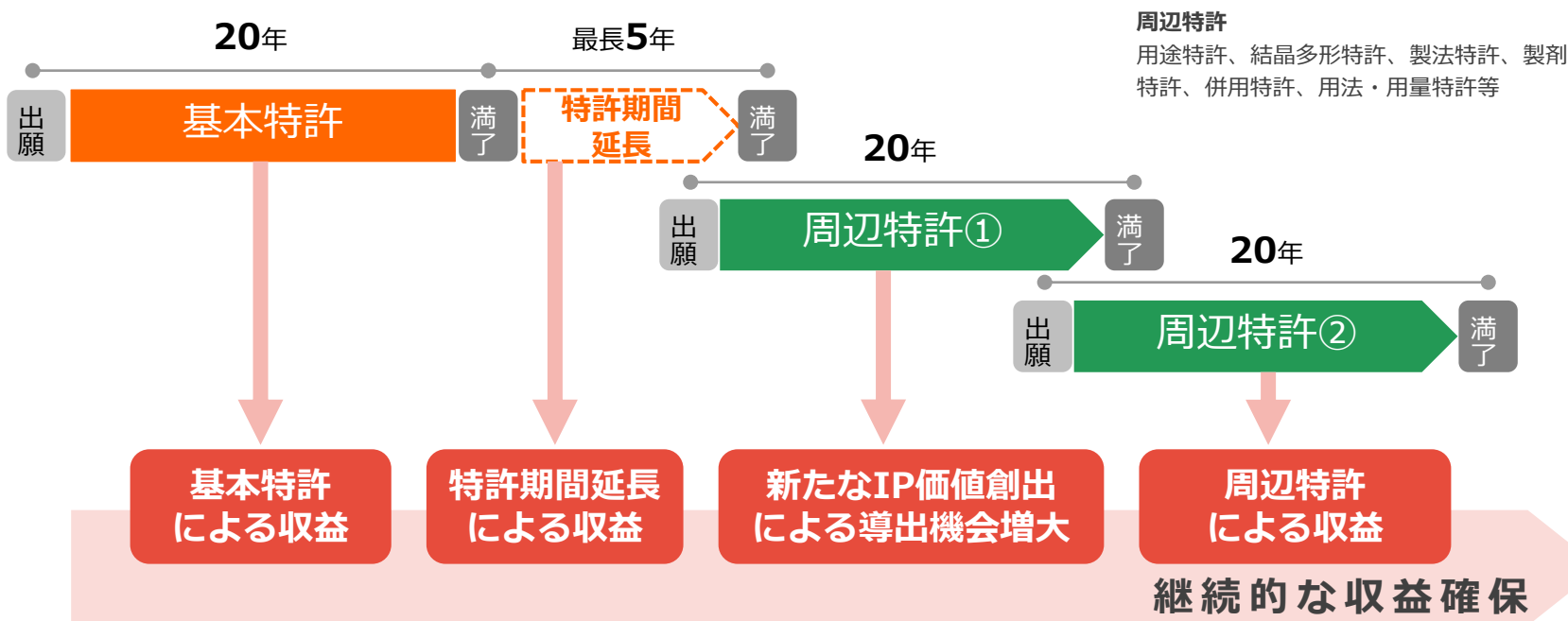
● 価値の高い知的財産ポートフォリオの構築

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





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



RaQualia
innovators for life

上市品の状況

テゴプラザン・ペット用医薬品

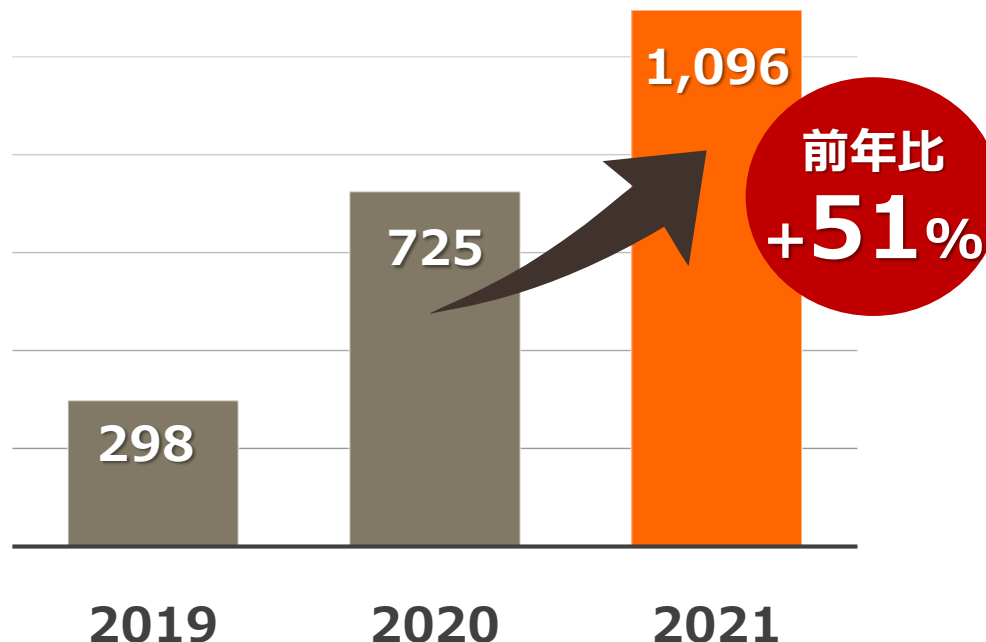


K-CAB[®]の韓国販売は好調に推移

- 2021年の販売額 (院外処方データ) 1,096億ウォン (約105億円)
- 年平均成長率 72% (2019年~2021年)

「K-CAB[®]」の韓国売上高の推移

(単位: 億ウォン)



出所: UBIST院外処方データ

換算レート: 1韓国ウォン=0.096円



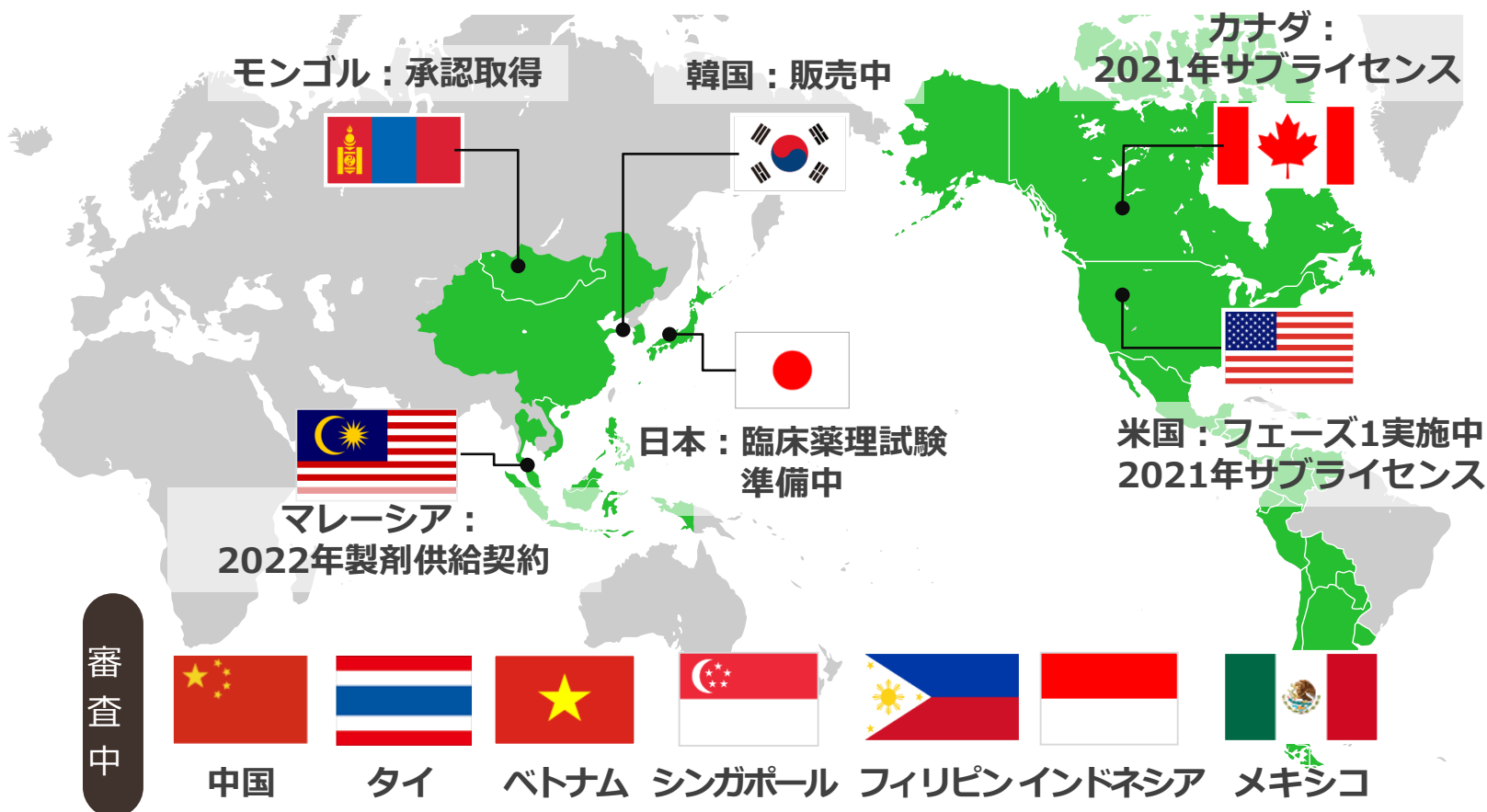
テゴプラザンの世界展開

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（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

- 上市済み1カ国（韓国）、審査中/申請準備中26カ国、臨床試験実施中1カ国
- 2022年に中国での承認取得と販売開始を見込む



(2022年2月14日現在)



消化性潰瘍薬のグローバルの潜在市場は 2兆円

当社のライセンス先であるHKイノエン社は2028年までに100カ国への進出を目指す

韓国のほか **27** カ国において開発・承認審査が進行中

国・地域	段階	発売年（見込み）	市場規模
韓国	販売中	2019年（済）	580億円（6,000億ウォン）
中国	審査中	2022年	3,100億円（170億元）
米国	フェーズ1実施中 サブライセンス契約締結	非開示	4,000億円
カナダ	サブライセンス契約締結	非開示	
モンゴル	承認取得	2022年	非開示
東南アジア	審査中	非開示	400億円（370万ドル）
中南米	審査中（メキシコ） 申請準備中（その他16カ国）	2023年（メキシコ） その他非開示	非開示

出所：HKイノエン社発表

換算レート：1 韓国ウォン=0.096円、1 米ドル=110円、1 中国元=18円



中国の消化性潰瘍薬の市場は大きく、さらに拡大すると期待される

- ライフスタイルの欧米化や高齢化により胃食道逆流症は増加する
- 日韓ではP-CABの参入により市場規模が拡大基調

胃食道逆流症の患者数、消化性潰瘍薬の市場規模および主な治療薬

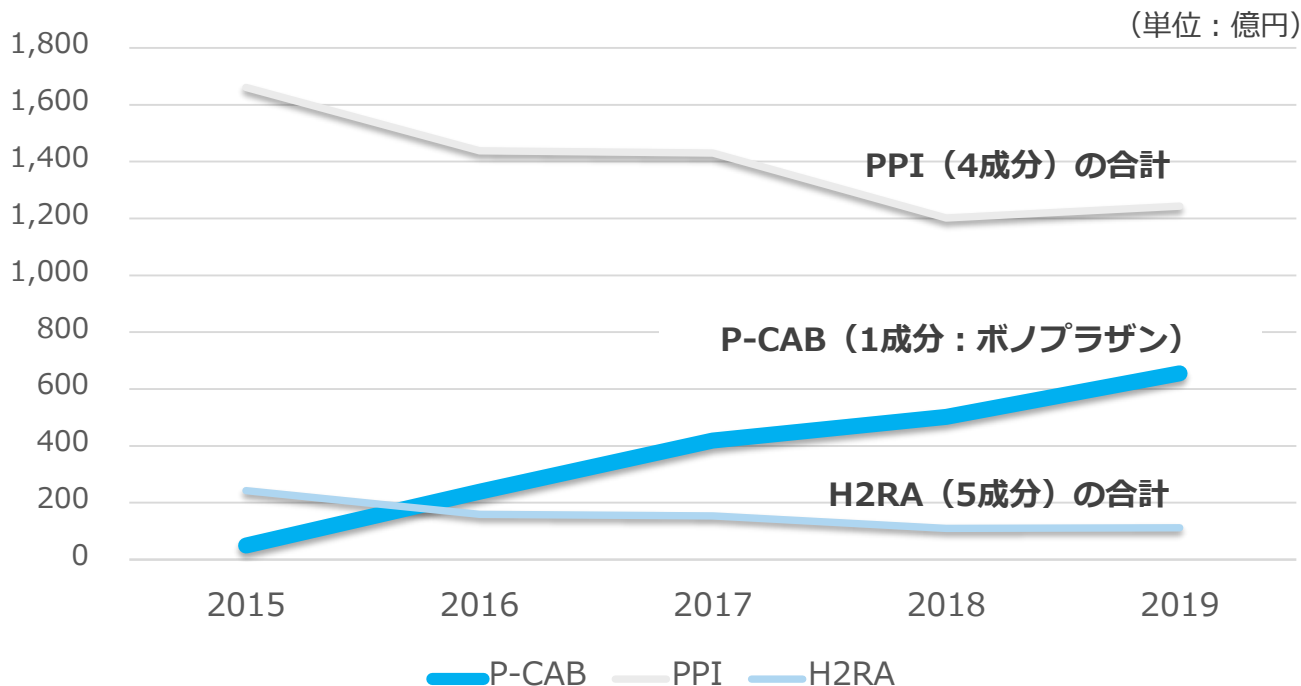
国・地域	患者数（人口比）	市場規模（総額）	市場規模/患者数	主な治療薬
 (中)	5,800万人 (4.2%)	3,100億円	5,300円/人	PPI & H2RA
 (米)	6,700万人 (21%)	4,000億円	5,900円/人	PPI & H2RA
 (韓)	300万人 (5.8%)	580億円	19,000円/人	PPI, H2RA & P-CAB
 (日)	1,700万人 (14%)	2,500億円	14,000円/人	PPI, H2RA & P-CAB

データ出所 : Sci. Rep. (2020) 10:5814 | <https://doi.org/10.1038/s41598-020-62795-1>



日本国内ではP-CABによるPPIとH2RAの置き換えが進んでいる

胃酸分泌抑制剤の売上高推移¹⁾



ネキシウム[®]の
2020年度売上²⁾

937億円

タケキャブ[®]の
2020年度売上²⁾

978億円

厚生労働省NDBオープンデータに基づき当社で集計・作図

P-CAB：ポノプラザン（タケキャブ[®]）

PPI：エソメプラゾール（ネキシウム[®]）、ランソプラゾール（タケプロン[®]ほか）、ラベプラゾール（パリエット[®]ほか）、オメプラゾール（オメプラール[®]ほか）の4成分

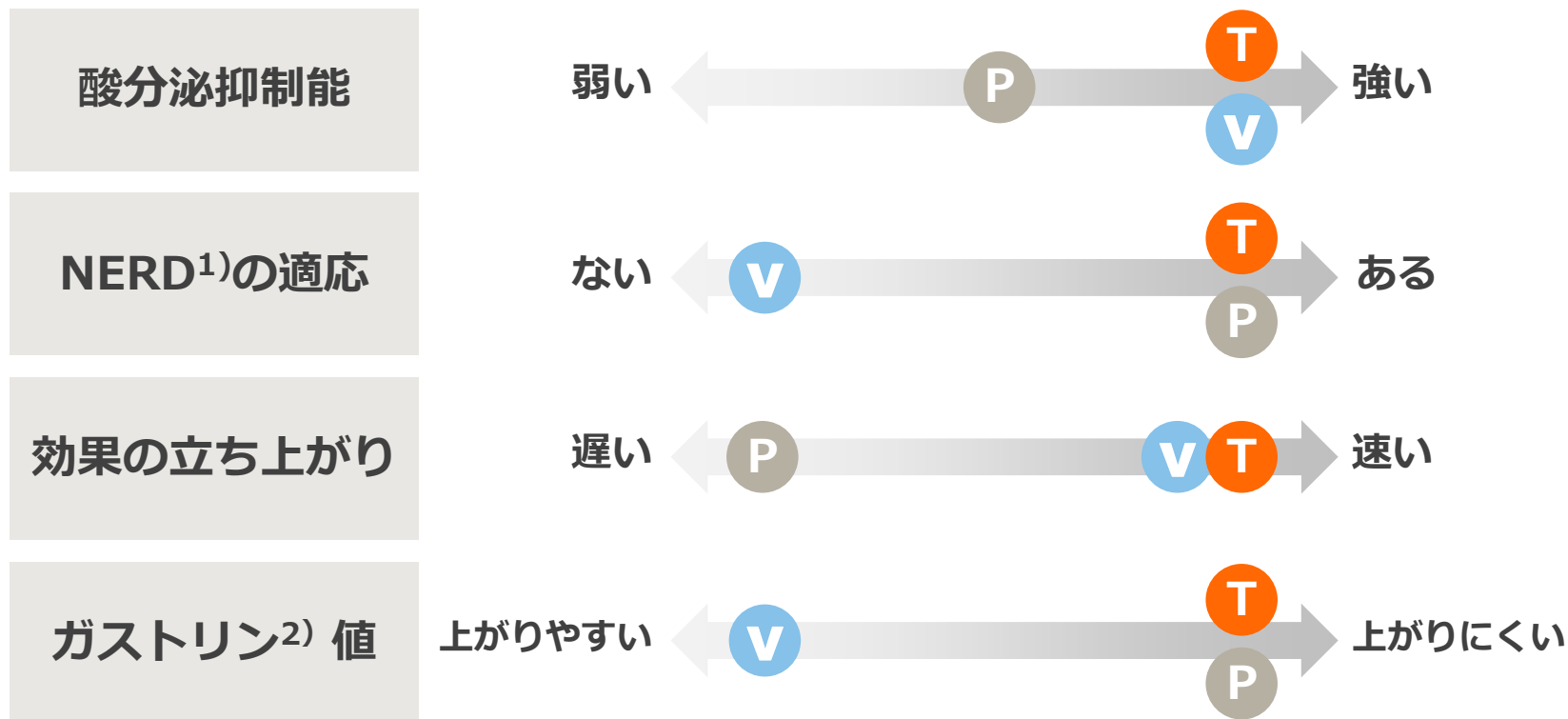
H2RA：ファモチジン（ガスター[®]ほか）、シメチジン（タガメット[®]ほか）、ラニチジン（ザンタック[®]ほか）、ラフチジン（プロテカジン[®]ほか）、ニザチジン（アシノン[®]ほか）の5成分
いずれもジェネリックを含む

出所：1) 厚生労働省NDBオープンデータ（第2回～第6回）に基づき当社で集計；2) ミクスOnline記事（2021年2月24日）



バランスの取れた特徴あるプロファイルによって 既存薬の課題を解決する薬剤

T : テゴプラザン
V : ボノプラザン
P : PPI



※上図はイメージです。各薬剤の特長をわかりやすくするための簡略的な記載としており、強弱や優劣を定量的に表したものではありません。ご注意ください。

1) NERD : 非びらん性胃食道逆流症 ; 2) ガストリン : 胃から分泌されるホルモン。正常な状態では食後などで一時的に上昇し低値に戻るが、薬剤などの影響で高値が維持されることが報告されている。ガストリンの高値により投薬が中止されることがある (2021年10月15日付 m3.com 臨床ニュース「PPIの副作用、下痢への懸念の声が多数」)



胃酸分泌抑制剤の競合状況

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- 非びらん性胃食道逆流症の適応を持つP-CABはテゴプラザンのみ
- 日本・中国・米国ではvonoprazan（タケキャブ®）が先行（非びらん性胃食道逆流症の適応未取得）
- Fexuprazonの参入によりP-CABの競争が活発化すると予想

作用機序	開発品名 (製品名・ コードほか)	企業名	適応症	実施 地域	臨床開発						
					P1	P2	P3	承認 申請	承認	販売	備考
P-CAB	tegoprazan (K-CAB®)	当社/ HKイノエン社 ほか	胃食道逆流症 (びらん性・ 非びらん性)	韓国	販売中 (2019年3月上市)						
				中国					審査中	2022年販売開始見込み	
				米国	実施中						
				アジア					審査中		
				中南米				準備中		メキシコでは審査プロセスへ移行	
				日本	終了	臨床薬理試験を実施予定					
	vonoprazan (タケキャブ®)	Takeda ほか	胃食道逆流症 (びらん性)	日本	販売中						
				中国	販売中						
				米国					審査中		
				韓国					承認取得		
fexuprazan	Daewoong/ Neurogastrx	胃食道逆流症 (非びらん性)	米国		実施中					オンデマンド使用	
			日本			不成功					
			韓国	販売中							
			中国			実施中					
PPI	dexlansoprazole esomeprazole (ネキシウム®)	Takedaほか AstraZeneca	胃食道逆流症 (びらん性・ 非びらん性)	韓国・米・欧	販売中						
				日・中・米・ 欧・韓	販売中						
				米国			実施中				P2は実施せず 日本販売なし



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11,832百万米ドルに達し、年平均成長率6%で2027年には17,603百万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



2021年12月期の新規契約（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



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（久光製薬社）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社が実施
- 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/



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I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契約締結
- **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ファルマ社との契約解約を合意。当社は国内における開発・販売権利を実施許諾元であるViatrix社（米国）に返還することを決定

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、 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、 マレーシア						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				

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社の導出先であるOCT社（英国）が前臨床試験を実施中
- **選択的ナトリウムチャンネル遮断薬**：マルホ社にて引き続き開発中
- **P2X7受容体拮抗薬**：Eli Lilly 社（米国）が第Ⅱ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ファーマ社にて引き続き開発中
- **TRPM8遮断薬**：Xgene社が前臨床試験を準備中
- **ナトリウムチャンネル遮断薬**：久光製薬社が前臨床試験を準備中

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	—		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	—		準備中							



RaQualia
innovators for life

導出準備プログラムの状況



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、臨床試験（臨床薬理試験）を実施予定
- **5-HT₄部分作動薬、5-HT_{2B}拮抗薬、モチリン受容体作動薬**：次段階の臨床試験の実施を検討していたが、テゴプラザンの臨床薬理試験を優先することにより、導出活動に注力
- **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			準備中						
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	全世界			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			終了						
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		終了							
グレリン受容体作動薬	RQ-00433412	がんに伴う食欲不振・悪液質症候群、脊髄損傷に伴う便秘	全世界		実施中							
TRPM8遮断薬	RQ-00434739	疼痛	日本		検討中							



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
- 未治療unfit (※) AMLを対象としたベネトクラクス・アザシチジンとの併用による第Ⅱ相臨床試験 (SELECT-AML-1) を実施中
- オーフアンドラッグ指定を取得済み (MDS : 米国、AML : 米国・欧州)

開発コード	適応症	開発地域	開発段階	導出先
TM-411	骨髄異形成症候群 (MDS)	米国	P3実施中	Syros Pharmaceuticals, Inc. (シロス社)
	急性骨髄性白血病 (AML)	米国	P2実施中	Syros Pharmaceuticals, Inc. (シロス社)
	すい臓がん (PC)	日本	P1/2実施中	医師主導治験 (名古屋大学)

※unfit : 高齢者などで標準化学療法に適さない患者



タミバロテンの開発計画



TM-411

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

- シロス社による未治療高リスクMDS治療薬の開発が先行。2024年の申請を目指す
- テムリックはアジアの権利を保有。米国での開発の進展にあわせて2024年の導出を目指す

ラ ライセンス契約 申 承認申請

コード	適応	対象地域	2022				2023				2024				
			1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	
TM-411	MDS	米国	P3											申	
		日本													ラ
		中国													ラ
	AML	米国	P2	シロス社は2022年にSELECT-AML-1の中間結果を公表予定											
	PC	日本	P 1/2												ラ



RaQualia
innovators for life

事業計画

事業目標・収益計画・事業費用・成長戦略等



2021年6月発表の中期経営計画の達成状況

事業計画および
成長可能性に
関する事項

収益

2021年12月期から2023年12月期の3期の黒字化

⇒2021年12月期は達成

研究

2023年12月期までに開発候補化合物2個を創出

⇒新規ナトリウムチャンネル遮断薬の創出及び導出

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

⇒ 実施中

導出

導出準備プログラムおよび新規開発候補化合物から年1件の契約締結

⇒ 2件の導出契約締結

時価総額向上へ



2024年12月期までの目標設定

昨年発表の中期経営計画（2021年度12月期～2023年度12月期）の
目標を継続・発展。3期累計の事業収益額をコミットし達成を目指す

収益

2022年12月期から2024年12月期の3期の黒字化の達成
3期累計で**89**億円の事業収益の獲得

※本収益目標に基づく業績連動報酬制度の導入を予定

研究

2024年12月期までに
開発候補化合物1個を
創出

開発

グレリン受容体作動薬の前
臨床試験終了（2023年12月期）

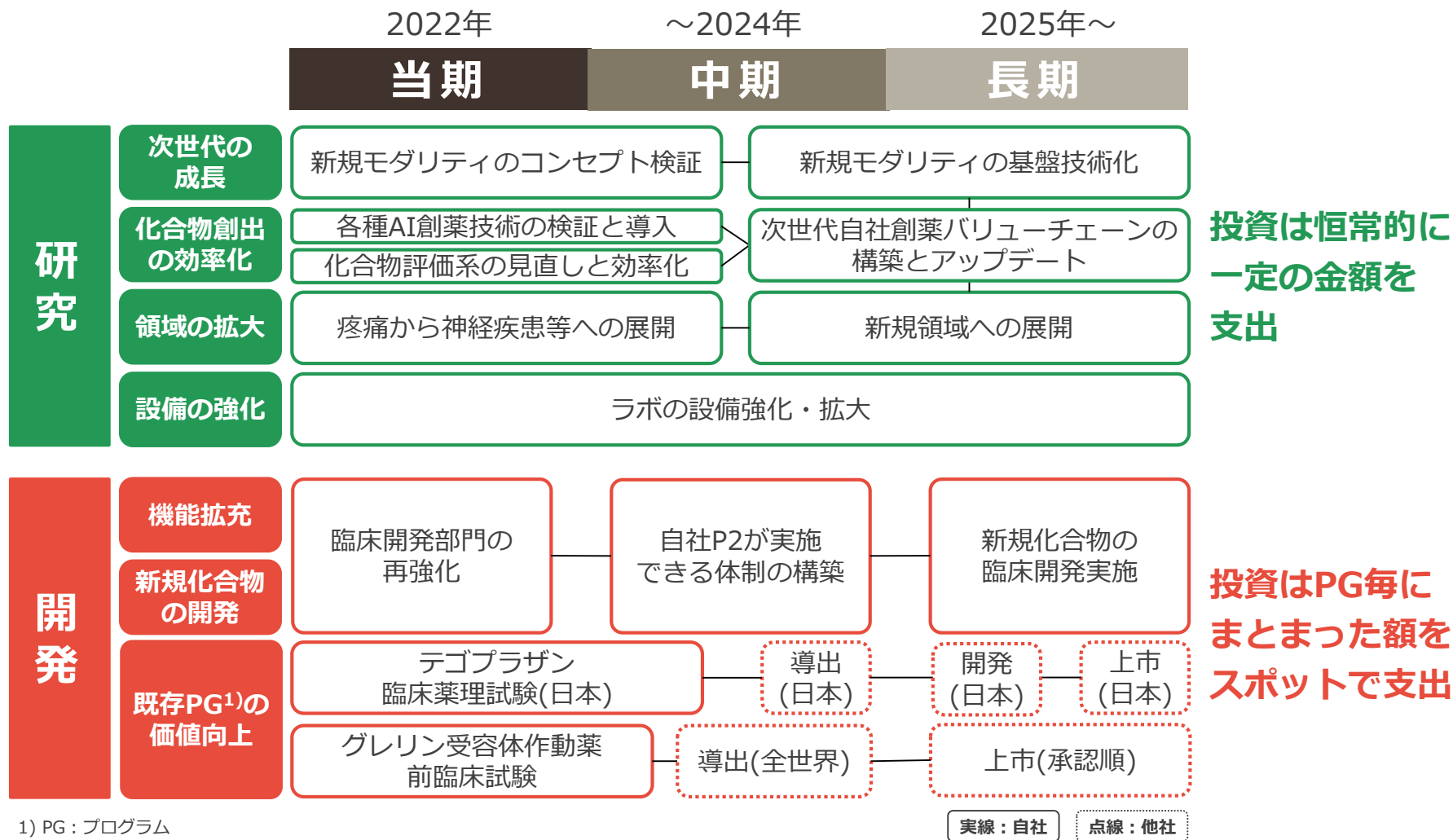
テゴプラザンの日本国内に
おける臨床薬理試験の終了
（2023年12月期）

導出

毎年1件の新規導出契約
締結



恒常的に新薬を創出できる体制構築を目指す



1) PG : プログラム



- 自社開発の対象とする2プログラムを選定
- その他のプログラムについては導出活動に注力
適応症の探索や非臨床での追加データの取得等の価値向上の取り組みは継続
- 新たな開発候補化合物に対して自社開発を機動的に検討

自社開発により新薬上市の成功確率と期待収益を高めるプログラム

グレリン受容体作動薬

RQ-00433412

目標▶ 前臨床試験を完了 (~2023年)

テゴプラザン

目標▶ 臨床薬理試験を実施 (~2023年)

現在の開発ステージでの導出を目指すプログラム

5-HT₄部分作動薬

RQ-0000010 (RQ-10)

P1段階終了

5-HT_{2B}拮抗薬

RQ-00310941 (RQ-941)

P1段階終了

モチリン受容体作動薬

RQ-00201894 (RQ-894)

前臨床試験終了



【背景】

- 韓国では、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済
- 日本国内の承認申請に韓国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あり



臨床薬理試験の実施

- 日本人と韓国人の民族差を同一試験内で評価
- HKイノエン社との協力体制について現在協議中

終了時期（見込み）

2023年

費用（見込み）

5億円

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、臨床薬理試験を行う

この考え方についてPMDA相談に諮り、国内導出のドライバーとする



※2022年2月14日現在

探索研究段階の プログラム数※1

9

	共同研究相手	疾患	標的分子	状況
企業	あすか製薬	非開示	イオンチャネル	継続中
	インタープロテイン	疼痛	非開示	継続中
アカデミア	長崎大学	新型コロナウイルス感染症	非開示	学術研究に移行
	岐阜薬科大学	網膜静脈閉塞症	非開示	継続中
自社	-	非開示	イオンチャネル	継続中
	-	非開示	イオンチャネル	継続中
	-	非開示	イオンチャネル	継続中
	※2	心不全	GPCR (CRHR2)	継続中
	-	非開示	その他	継続中

※1：標的選択段階のプログラムを除く

※2：名古屋大学と実施していたCRHR2拮抗薬に関する共同研究は2021年12月で契約満了し、2022年1月からは当社の単独研究として実施中

**恒常的に7~10プログラムを実施することで
継続的に画期的な開発候補化合物を創出する**



疾患領域フォーカス

- 「疼痛・消化器」中心のラインナップを「神経疾患」へ拡大
 - ・ イオンチャネル創薬技術を活かす
 - ・ アンメットニーズが大きい神経変性疾患、遺伝病・希少疾患
 - ・ 標的分子探索・疾患モデルでアカデミアと連携

スピードと成功確率の向上を目指した新たな創薬技術

- AI・インフォマティクスの活用
 - ・ 標的分子探索やドラッグリポジショニングで社外と連携
- イオンチャネルに対する構造生物学的アプローチ
 - ・ 結晶構造解析・Cryo-EMについて社外と連携
 - ・ AIとの組み合わせで化合物デザインに活用

新規モダリティ

- 実績ある化合物デザイン・合成の力で核酸標的的低分子・中分子に挑戦
- 高分子の新規モダリティに戦略的提携で取り組む



今期の業績予想および今後の業績目標 (再掲)

事業計画および
成長可能性に
関する事項

2022年12月期は**事業収益2,605百万円**を見込む

2022年から2023年にかけては、2つのプログラムで**自社開発を進めるため事業費用が増加**するが、安定的な事業収益の確保により**3期連続の営業黒字**を見込む

単位：百万円

	実績	計画	目標	
	2021年 12月期	2022年 12月期	2023年 12月期	2024年 12月期
事業収益	2,776	2,605	2,926	3,362
事業費用	2,068	2,184	2,607	2,475
営業利益	707	420	318	886
経常利益	863	420	313	874
親会社株主に 帰属する 当期純利益	755	342	206	678
為替想定 (米ドル/日本円)	110.00	110.00	110.00	110.00



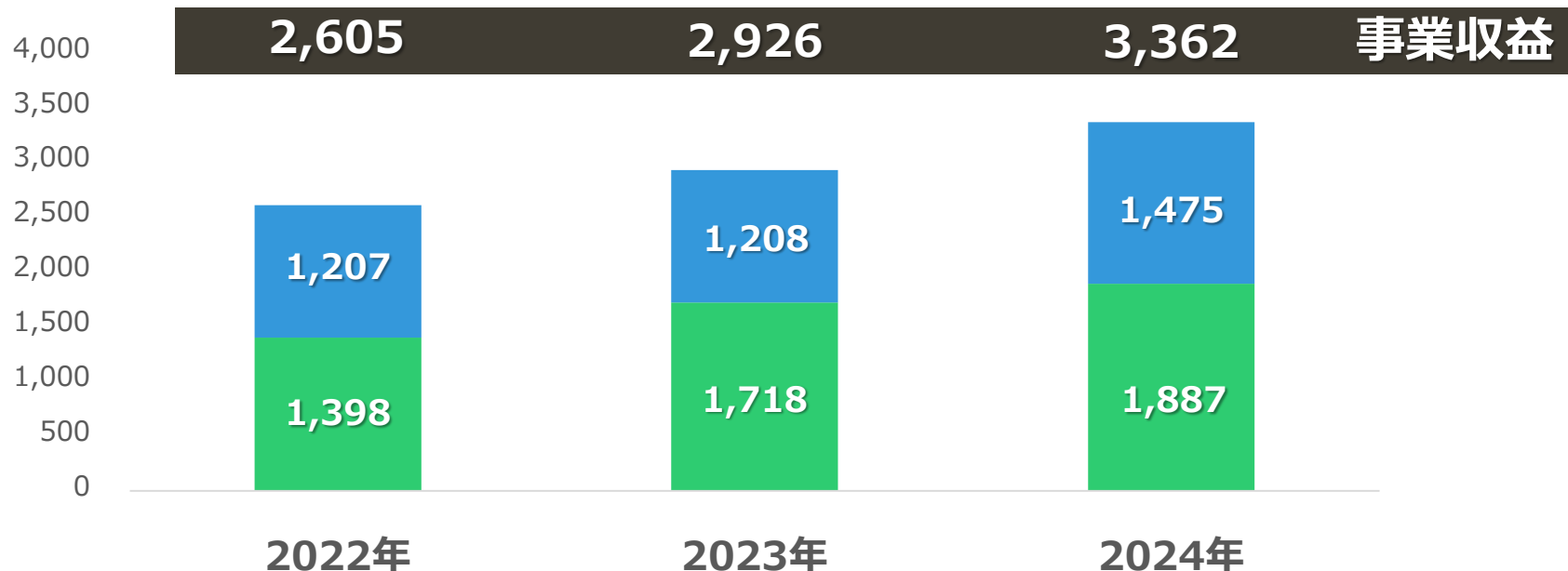
事業収益計画の概要

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



2022年

テゴプラザンの韓国売上拡大により販売ロイヤルティで1,398百万円を見込む
その他、テゴプラザンの中国での上市によるマイルストーン受領等で1,207百万円を見込む

2023年

テゴプラザンを中心に上市品が堅調に伸び、販売ロイヤルティ1,718百万円を見込む
その他、導出済みプログラムのマイルストーンや契約一時金等で1,208百万円を見込む

2024年

テゴプラザンの中国販売がさらに伸長し、販売ロイヤルティ1,887百万円を見込む
その他、テゴプラザン（日本）を含む契約一時金等で1,475百万円を見込む



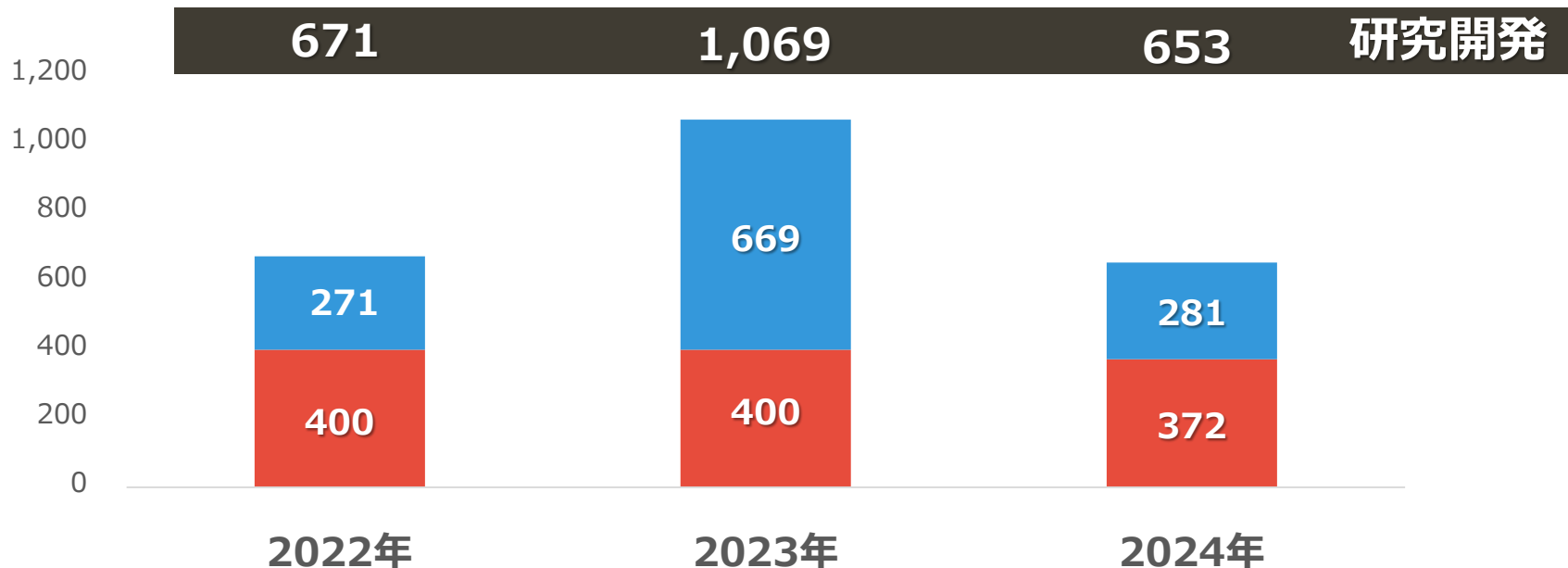
研究開発費の概要

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

■ 研究 ■ 開発

単位：百万円



2022年

グレリン受容体作動薬の前臨床試験およびテゴプラザンの開発に向け271百万円を投資
研究では開発候補化合物の創出と新領域・新技術開の開拓のため、400百万円を投資

2023年

テゴプラザンの臨床薬理試験ほかの自社開発への投資で開発費669百万円を投資
研究への投資額は前年レベルを維持してポートフォリオとテクノロジーの拡充に取りくむ

2024年

研究費372百万円を投じて開発候補化合物の創出と技術の拡充に向けて取り組む
新規開発候補化合物の開発のため、開発費281百万円を投資

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件費を含みません。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 <small>2021年12月20日公表</small>	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
2022年度通期（計画）	2,928	2,372	556	563	464
2023年度通期（目標）	3,009	2,327	681	686	561
2024年度通期（目標）	—	—	—	—	—

見直し後 <small>2022年2月14日公表</small>	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
2022年度通期（計画）	2,605	2,184	420	420	342
2023年度通期（目標）	2,926	2,607	318	313	206
2024年度通期（目標）	3,362	2,475	886	874	678

2022年

事業収益が前回発表比323百万円（同11.0%）の減少。将来価値の向上を目指した自社開発の実施により、従来の計画では2022年度に見込んでいたテゴプラザン（日本）の契約一時金が2024年度にずれ込むことと、ロイヤルティ収入をより保守的に算定したことによるもの

2023年

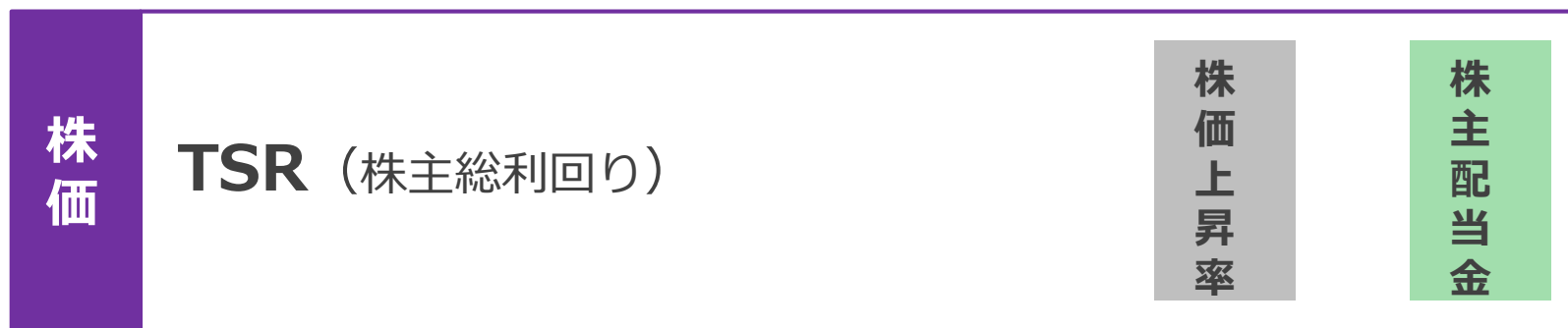
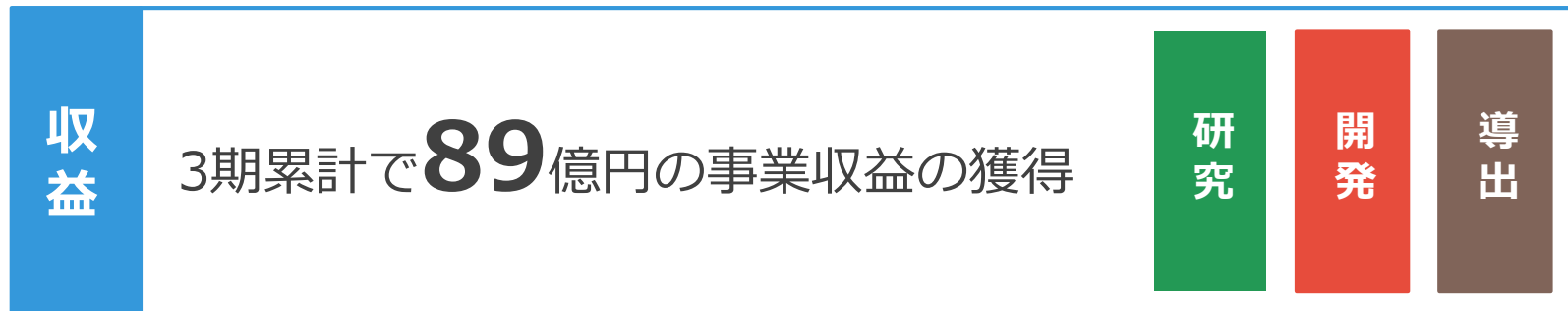
事業収益が前回発表比83百万円（同2.7%）の減少。テゴプラザンの臨床薬理試験等による研究開発費の増加等で事業費用が同280百万円（同12.0%）増加し、営業利益は同363百万円（同53.3%）減少

2024年

今回新たに発表



事業計画および株価と連動する **業績連動報酬制度（PSU）** を導入



**達成率に基づき報酬が決定される仕組みにより
経営陣の事業計画へのコミットメントをさらに高める**



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®』）の韓国販売は一段と拡大。2021年の院外処方実績は1,096億ウォン（約105億円）に達し、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 I 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締結され、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
- 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、契約締結へ。2028年にはグローバル100カ国への進出を目標としている
- 日本においては、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、当社が臨床薬理試験を行う



ペット用医薬品は堅調に伸長

- 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



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：Eli Lilly社（米国）が第Ⅱ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。当社は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開発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維持

（※）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月期の事業収益実績は2,776百万円となりました。
- 2022年12月期の事業収益計画は2,605百万円です。
- 2023年12月期の事業収益計画は2,926百万円です。
- 2024年12月期の事業収益計画は3,362百万円です。
- 2022年から2024年までの3か年における累計事業収益89億円の達成を目指します。
- 研究開発では2024年12月期の終了時まで以下に以下の目標を達成します。
 - 探索研究段階のプログラムから新たに1個の開発候補化合物を創出
 - グレリン受容体作動薬の前臨床試験の完了
 - テゴプラザンの日本における臨床薬理試験の開始ならびに完了
- 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計画しています。

「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2023年2月を予定しておりますが、事業環境の変化等で事業計画に大きな変更が生じた場合は、変更が確定した時点で速やかにお知らせいたします。



資金の状況と配分

事業計画および
成長可能性に
関する事項

RaQualia
innovators for life

資金の状況

2022年～2024年の
ロイヤルティ収入

50 億円以上

2022年～2024年の
契約一時金・マイルストーン収入

39 億円以上

手元資金
(2021年期末)

35 億円

借入余力
(コミットメントライン)

10 億円

New

エクイティ調達

資金の配分

企業価値最大化に向けた投資

探索研究投資
(既存領域の拡充)

約 **12** 億円 (3カ年)

前臨床・臨床開発投資
(プロジェクトの価値向上)

約 **12** 億円 (3カ年)

設備投資
(既存設備の拡充・DX投資等)

戦略投資
(創薬技術の獲得等)

株主還元

株主配当金

黒字による
財務基盤強化に
応じて実施予定

自己株式の取得
機動的に検討

企業価値最大化を最優先し、中長期的に株主還元を実現する



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
医薬品の研究開発の環境	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候補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候補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
医薬品の研究開発の環境	<p>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。</p> <p>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。</p>
競合	<p>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。</p>
導出等による収益獲得	<p>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候補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。</p> <p>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候補化合物プログラムの価値を高め、契約一時金、マイルストーン収入、販売ロイヤルティ等の収益性を高めます。</p>
為替リスク	<p>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。</p>



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>



⑥ TRPM8遮断薬

契約書名	License Agreement for RQ-00434739
契約先	Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（香港）
契約締結日	2021年9月22日
契約期間	契約締結日からXgene Pharmaceutical Co. Ltd.（香港）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、Xgene Pharmaceutical Co. Ltd.（香港）に対して、TRPM8遮断薬（RQ-00434739）の日本を除く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>

⑦ 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	久光製薬株式会社
契約締結日	2021年12月20日
契約期間	契約締結日から久光製薬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、久光製薬株式会社に対して、ナトリウムチャンネル遮断薬（RQ-00350215）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、さらに製品販売高に応じた販売マイルストーンを受領する。</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」）



RaQualia
innovators for life

その他補足情報②

(テゴプラザン (K-CAB[®])HKイノエン社資料)



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	21年韓国で承認
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	+	+++	

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。



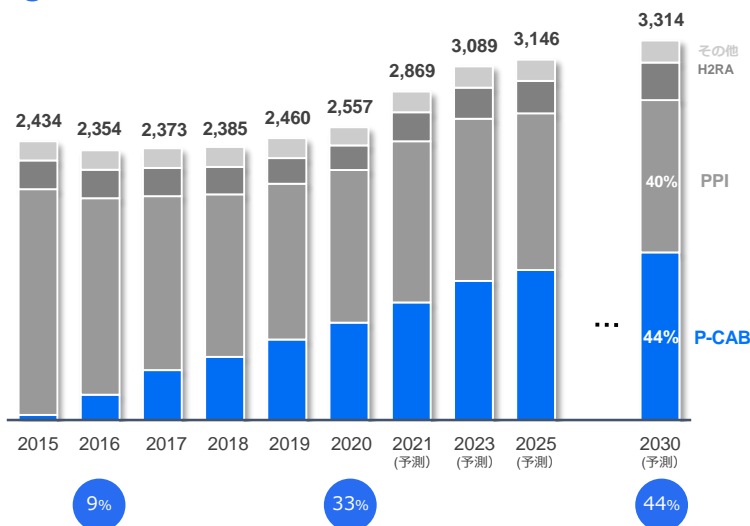
(HKイノエン社発表資料 IR Book (2021年7月) より引用・和訳)

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



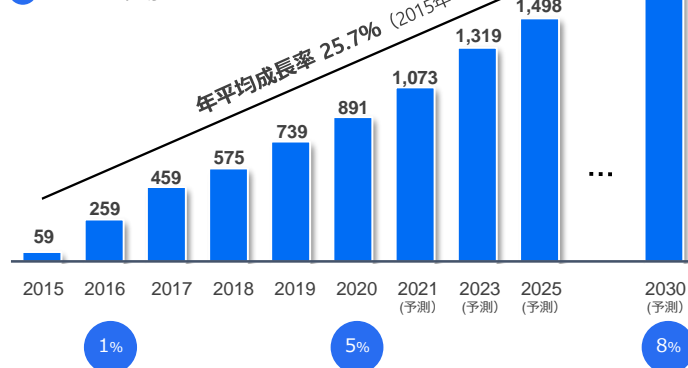
グローバルP-CAB市場も同様の推移を示すと見込まれる

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

その他補足情報③

(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	便秘とは本来体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4,200万人。国内では継続的に治療を受けている患者数21万9,000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」



RaQualia
innovators for life

その他補足情報④

(導出準備プログラム補足情報)

想定市場規模・競合・化合物の特長



研究開発段階	第 I 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

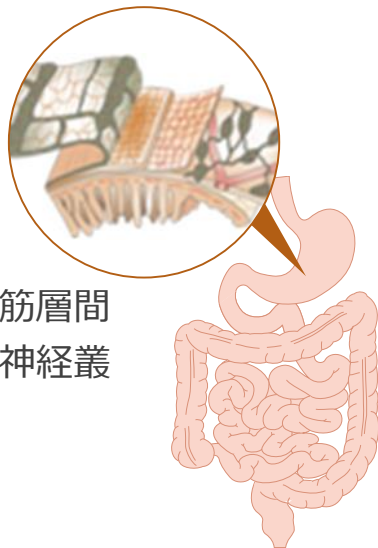
LOE (Lost of Exclusivity)：独占期間の満了



- 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

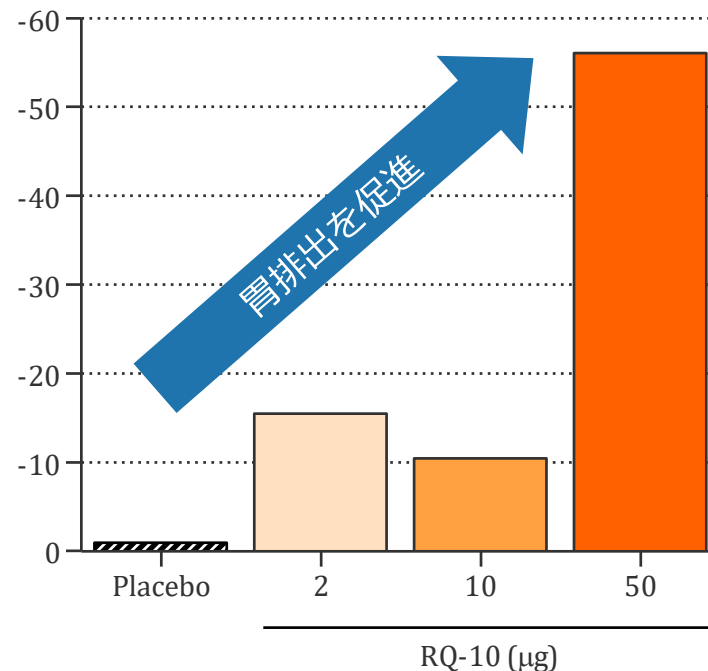
胃食道逆流症
機能性ディスペプシア
胃不全麻痺

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 I 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



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

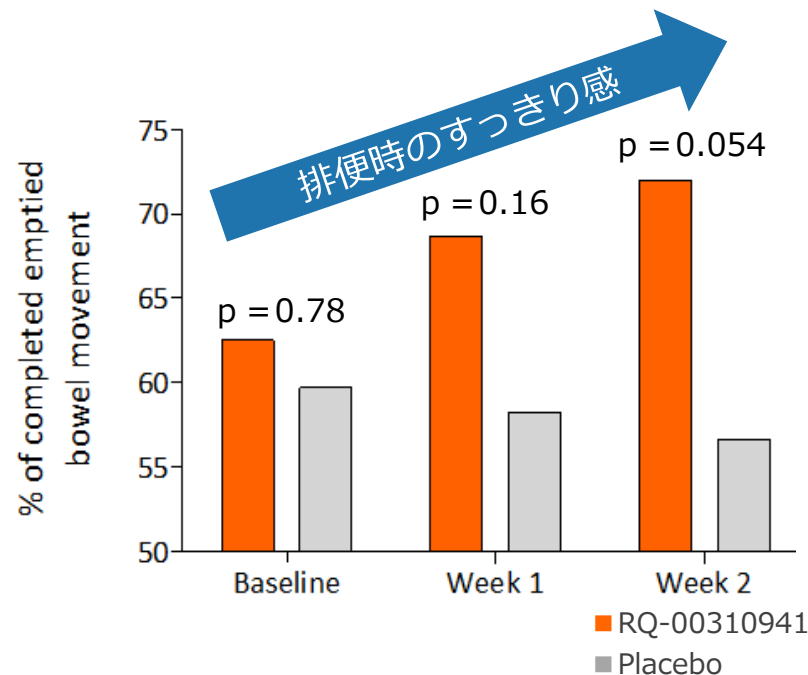
下痢型過敏性腸症候群 (IBS-D)

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
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



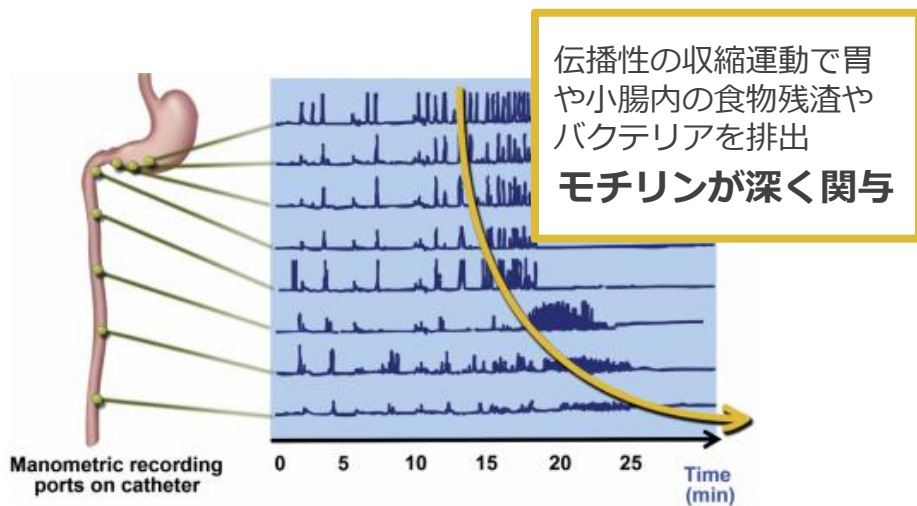
- モチリン受容体（ヒト）に対する高い作動薬活性
- 動物試験（イヌ胃運動）における強い薬効
- 薬効用量の反復投与による脱感作なし
- 胃不全麻痺：高いUnmet medical needs（安全な承認薬なし）

伝播性消化管収縮運動

Migrating Motor Complex (MMC)

MMCの異常

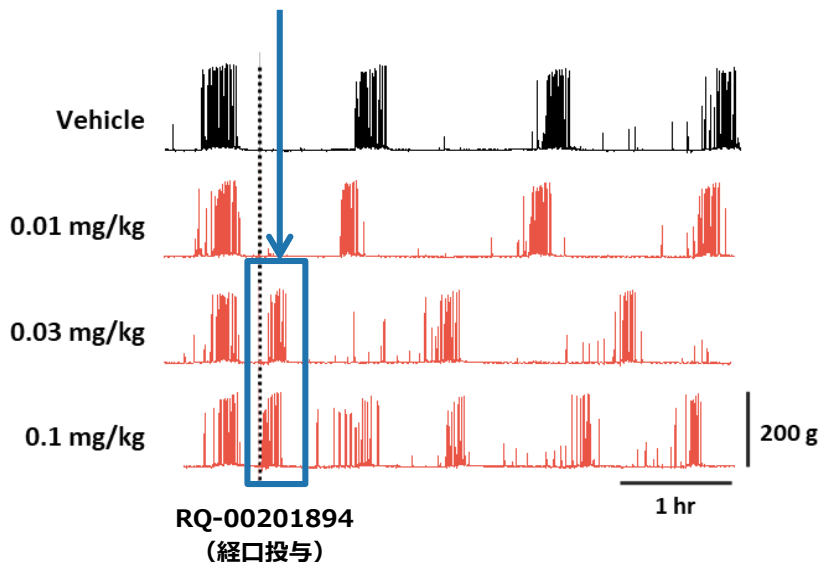
- 胃排出の遅延（胃不全麻痺）
- 腸内細菌の異常増殖
- 腸管の偽閉塞



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





グレリン受容体作動薬の概要

RQ-00433412

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	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



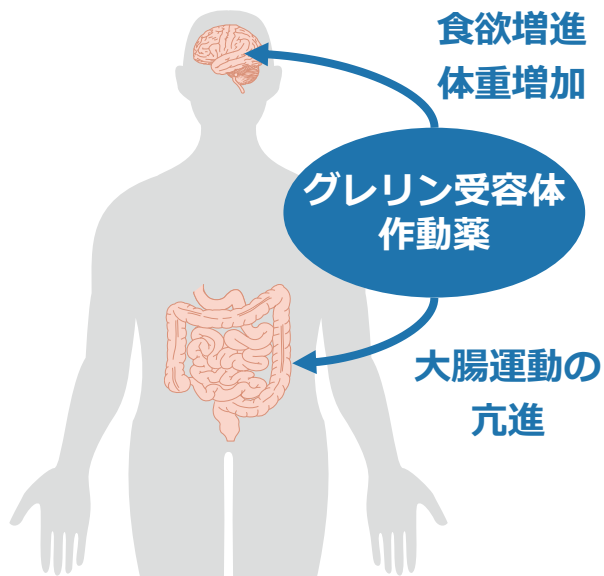
がん悪液質、および脊髄損傷に伴う便秘の双方に対する有効性が期待される化合物

● がん悪液質

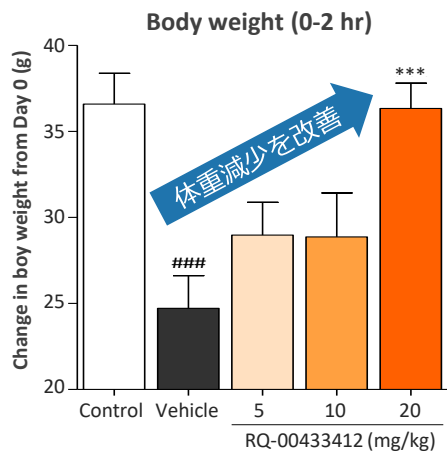
進行がん患者の初診時に約50%、終末期の80%に認められる。グレリン受容体作動薬は視床下部に働きかけ、食欲を増進、脳下垂体からの成長ホルモンの放出を促し、筋肉量増加および体重増加の作用を持つ

● 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

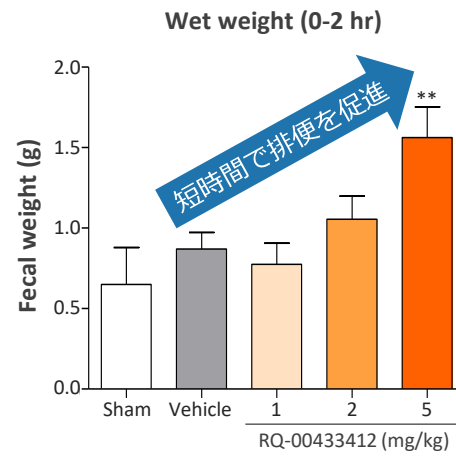


担癌ラット悪液質モデルにおけるRQ-00433412の効果



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



- ◆ 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