

決算説明会

2024年12月期（第17期）第1四半期

2024年5月 東証 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。



- ◆ 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。



1. ビジネスハイライト
2. 第1四半期業績
3. 上市製品の状況
4. パイプラインの状況
5. 成長戦略
6. 資金の状況と配分

① ビジネスハイライト



連結経営成績

事業収益648百万円（前年同四半期比 75.1%増）

上市品の状況

テゴプラザンのグローバル展開は順調に拡大中

- 中南米諸国での拡大：チリほか4カ国で新たに販売承認
- 中東・北アフリカ（MENA）地域での拡大：HKイノエン社がTabuk社とサブライセンス契約

ペット用医薬品も販売地域を拡大中

- ELURA®：欧州（製品名：Eluracat®）および日本（製品名：エルーラ）における販売承認

ライセンス契約

Velovia Pharma, LLCとペット用医薬品の開発に関する新規提携

パイプライン進捗

TRPM8遮断薬の第I相臨床試験が豪州で開始

グレリン受容体作動薬の自社研究開発は継続実施中

子会社

ファイメクス：子会社化完了。統合効果の最大化に向けたPMI進行中

- アステラス製薬との共同研究における初期目標達成により一時金を受領

テムリック：タミバロテンの開発が順調に進展

- 急性骨髄性白血病（AML）を対象とした米国FDAファストトラック指定



2 第 1 四半期業績



単位：百万円

	2023年12月期 第1四半期	2024年12月期 第1四半期	前年同期比 増減
事業収益	370	648	+278
営業利益	△108	44	+153
経常利益	△110	△77	+32
親会社株主に帰属する 四半期純利益	△148	△78	+70
EBITDA ¹⁾	△77	89	+167

1) EBITDA: 利払・税引・減価償却前利益。国ごとに異なる税率・金利の影響を減らし、中長期的視点で企業の収益力を表す指標として用いられます。



通期計画 4,535百万円に対し、当第1四半期で 648百万円を計上

対前年同期比

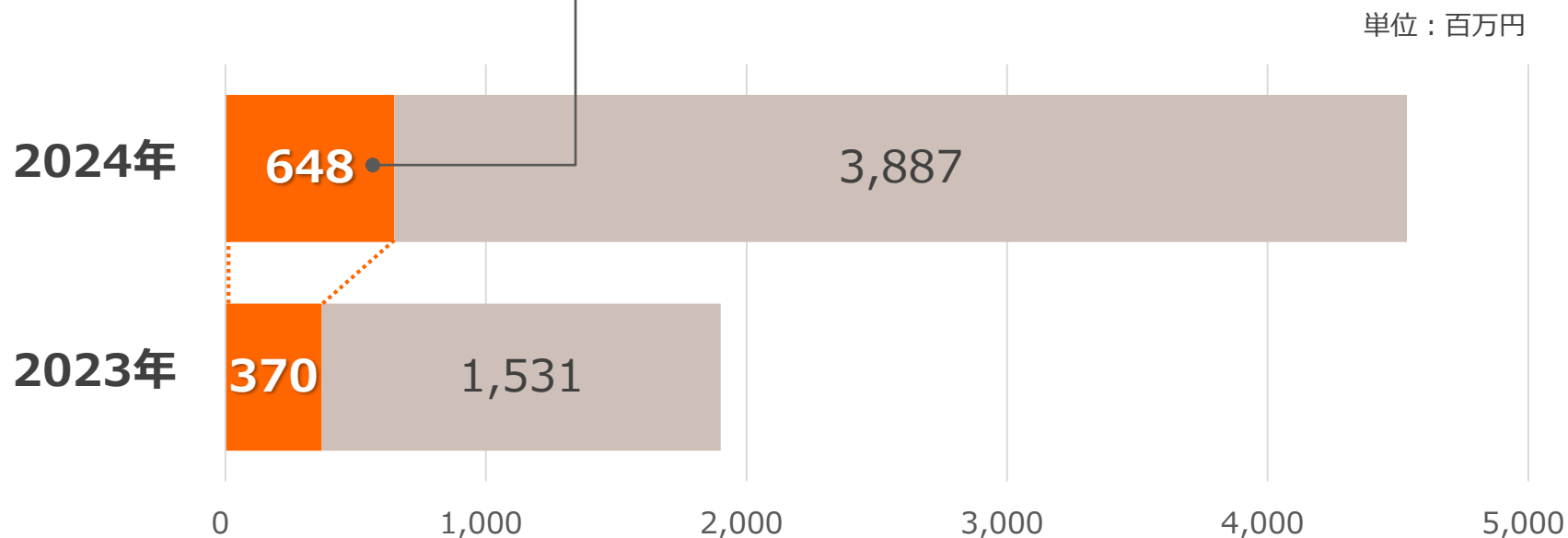
+75.1%

当第1四半期（内訳）

ロイヤルティ	551百万円
その他 (契約一時金・マイルストーン等)	97百万円

通期計画達成率

14.3%



通期

計画 4,535 百万円

実績 1,901 百万円

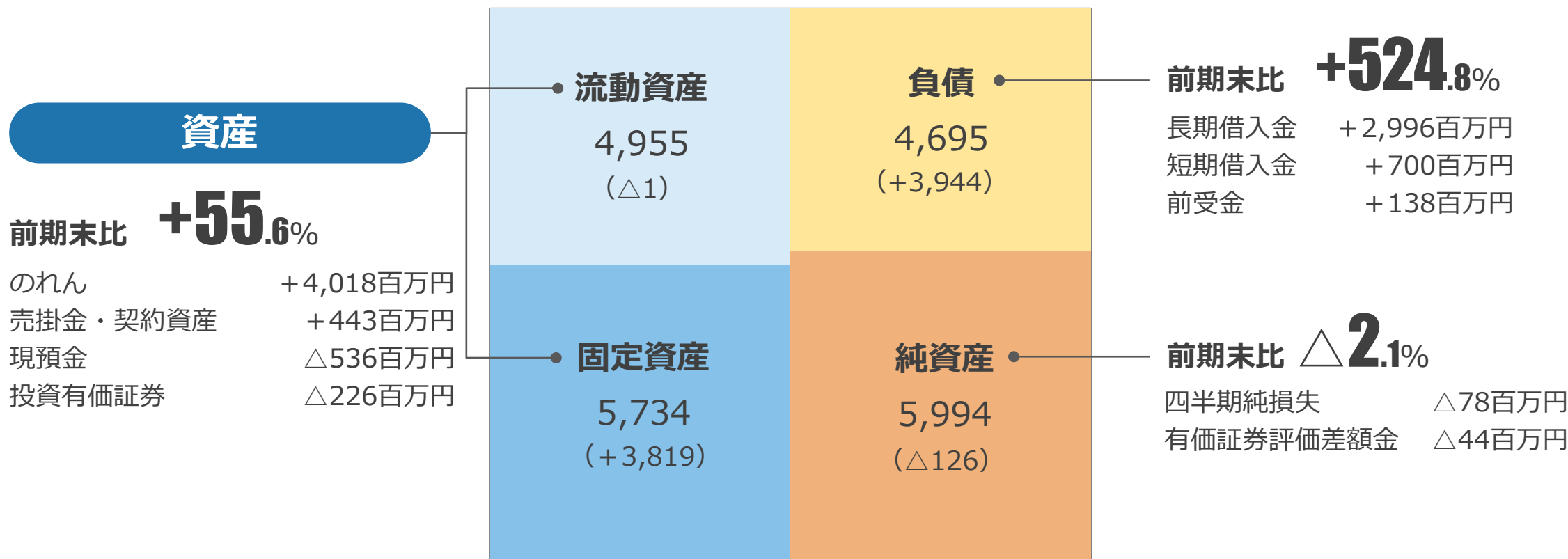


ファイメクスの子会社化に関連して資産と負債が大幅に増加

自己資本比率 55.9% (前期末比 32.8ポイント減)

連結貸借対照表 (対前期末比較)

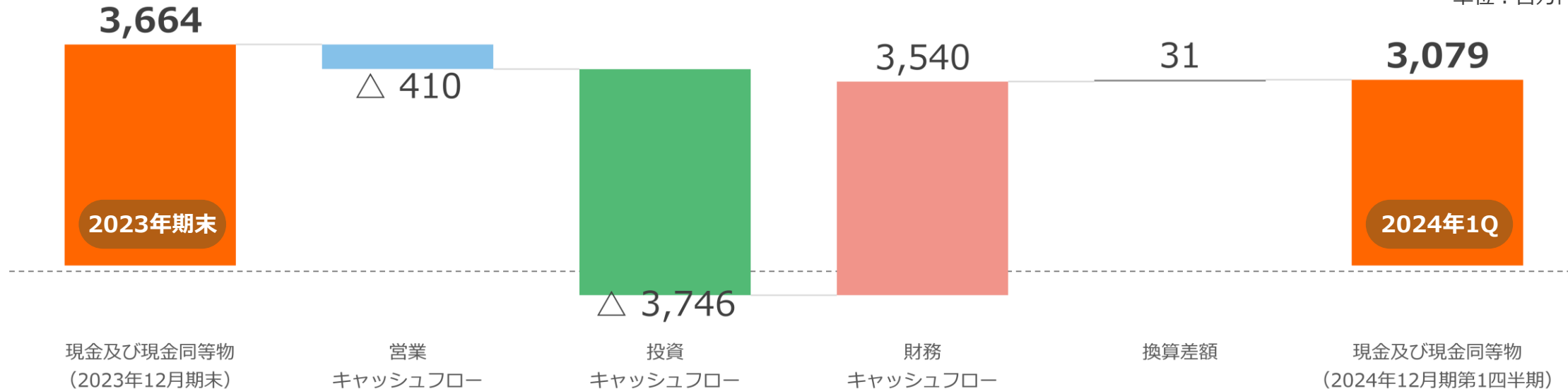
単位：百万円





現金および現金同等物は前期末比585百万円減少（16.0%減）

単位：百万円



	営業キャッシュフロー	投資キャッシュフロー	財務キャッシュフロー
主な増加要因	減価償却費 45百万円	投資有価証券の売却 155百万円	短期借入 200百万円 長期借入 3,360百万円
主な減少要因	税金等調整前四半期純損失 74百万円 売上債権の増加 443百万円 未払金の減少 54百万円	有形固定資産の取得 20百万円 連結範囲の変更を伴う 子会社株式の取得 3,879百万円	リース債務の返済 16百万円



3

上市製品の状況



種別	一般名・作用機序	適応症	製品名・販売元
 ヒト用	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)	<ul style="list-style-type: none"> 胃食道逆流症 胃潰瘍 十二指腸潰瘍 (ほか)	K-CAB® (韓国) HK inno.N Corporation タイシンザン 泰欣赞® (中国) Shandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co.,Ltd. (ほか)
  ペット用	グラピプラント EP4拮抗薬	<ul style="list-style-type: none"> 犬の慢性骨関節炎 	GALLIPRANT® (日米欧ほか) Elanco Animal Health Inc.
	カプロモレリン グレリン受容体 作動薬	<ul style="list-style-type: none"> 犬の食欲不振 	ENTYCE® (米国) Elanco Animal Health Inc.
		<ul style="list-style-type: none"> 慢性腎疾患または その他の慢性疾患を伴う 猫の体重減少管理¹⁾ 	ELURA® (米国) Eluracat® (欧州) エルーラ (日本) ※日・欧で発売準備中 Elanco Animal Health Inc.

1) 適応症は国・地域によって異なります。



カリウムイオン競合型アシッドブロッカー（P-CAB）

一般名	tegoprazan（テゴプラザン）
適応症	胃食道逆流症、消化性潰瘍、ピロリ菌除菌療法（ほか）
販売元	HK inno.N Corporation（韓国／HKイノエン社） Shandong Luoxin Pharmaceutical Group Stock Co.,Ltd.（中国／Luoxin社）（ほか）
製品名	K-CAB®（韓国・フィリピン）、泰欣赞®（中国）（ほか）



胃酸に関わる疾患は数多い

びらん性胃食道逆流症（GERD）、胃潰瘍
ヘリコバクター・ピロリ感染症 など



既存薬（プロトンポンプ阻害剤（PPI）） の課題を克服

- ✓ 服用30分以内の速やかな効果
- ✓ 最長6か月の長期服用でも有効性・安全性が持続
- ✓ 強力な胃酸分泌抑制能
- ✓ 低い薬物相互作用



世界の消化性潰瘍剤の市場は2兆円規模¹⁾

中国 4,500億円¹⁾、米国 4,000億円¹⁾、日本 2,500億円



日本を除く地域の権利をHKイノエン社に許諾

当社は開発の進捗に応じたマイルストーン/製品売上に応じた
ロイヤルティを受け取る



韓国・中国など8カ国²⁾で販売中

このほか38か国に進出

1) 出所：HKイノエン社IR資料「韓国版」（2023年11月）、換算レート：1韓国ウォン=0.11円

2) 韓国、中国、フィリピン、モンゴル、メキシコ、インドネシア、シンガポール、ペルー



新たなサブライセンス契約により進出国が増加 → **46カ国**に進出

中東・北アフリカ (MENA) 地域への進出





2024年4月23日公表

- ◆ Tabuk社：MENA17カ国に営業力を持つサウジアラビアの大手製薬会社
- ◆ MENA地域全体の胃酸分泌抑制剤の市場規模は1,100億円



承認取得・発売準備中

中南米4カ国で 新たに承認

 チリ・ ドミニカ共和国・
 ニカラグア・ ホンジュラス
630億円³⁾ (Carnot社)



その他の主要な国・地域における販売・開発状況および消化性潰瘍治療薬の市場規模¹⁾

(2024年4月30日現在)

P3試験実施中・申請準備中

-  **米国・カナダ**
4,600億円²⁾
-  **インドなど7カ国**
1,400億円
-  **ブラジル**
880億円

承認審査中

-  **アルゼンチンなど11カ国**
630億円³⁾
-  **タイ・マレーシア・ベトナム**
490億円⁴⁾

販売中

-  **韓国**
1,200億円
-  **中国**
4,500億円
-  **モンゴル**
-  **フィリピン・インドネシア・シンガポール**
490億円⁴⁾
-  **メキシコ・ペルー**
630億円³⁾

1) 出所：HKイノエン社IR資料「韓国版」（2024年4月）； 2) アメリカおよびカナダの市場規模の合計値
3) メキシコ・アルゼンチン・ペルーなど中南米17カ国の市場規模の合計値； 4) フィリピン・インドネシア・シンガポールなど東南アジア6カ国の市場規模の合計値

※換算レート：1韓国ウォン=0.11円



RaQualia
innovators for life

ペット用医薬品 3 製品

決算説明会

2024年12月期 第1四半期

既販売国での順調な売上げ推移に加え、新たな国・地域での承認による価値最大化に期待



EP4拮抗薬

GALLIPRANT®

- 日米欧ほかで販売中
- 2021年にブロックバスター製品¹⁾に成長²⁾

一般名	grapiprant (グラピプラント)
適応症	犬の慢性骨関節炎
販売元	Elanco Animal Health, Inc. (米国/Elanco社)



グレリン受容体作動薬

ENTYCE®

- 米国で販売中

ELURA®

- 米国で販売中

NEW 欧州 (Eluracat®) で承認
日本 (エルーラ)

一般名	capromorelin (カプロモレリン)
適応症	犬の食欲不振 (ENTYCE®) 慢性腎疾患またはその他の慢性疾患を伴う猫の体重減少管理 ³⁾ (ELURA®) ほか
販売元	Elanco社

1) ここでは年間売上高が100億円を超える規模の製品のことをブロックバスターと称しています; 2) Elanco社 2021年度決算発表 (2022年2月24日); 3) 適応症は国・地域によって異なります。

④ パイプラインの状況



NEW トピックス

- Velovia Pharma, LLCとペット用医薬品の開発に関する新規ライセンス契約を締結 2024年4月3日公表
- Xgene社へ導出したTRPM8遮断薬の第I相臨床試験が豪州で開始
- M&AによりファイメクスのパイプラインIRAK-M分解誘導薬が追加

導出済み

導出準備

開発段階非開示

(2024年5月15日現在)

<p>NEW ライセンス契約</p> <p>特定の4化合物 動物薬</p> <p>Velovia社</p>	<p>特定のイオンチャネル 消化器領域</p> <p>EAファーマ社</p>	<p>選択的ナトリウムチャネル遮断薬 鎮痛・鎮痒</p> <p>マルホ社</p>
<p>EP4拮抗薬 変形性関節症ほか</p> <p>AskAt社</p>	<p>NEW 臨床試験へ移行</p> <p>TRPM8遮断薬 疼痛</p> <p>Xgene Pharmaceutical社</p>	<p>EP4拮抗薬 疼痛</p> <p>AskAt社</p>
<p>ナトリウムチャネル遮断薬 疼痛</p> <p>久光製薬社</p>	<p>CB2作動薬 化学療法誘発性末梢神経障害ほか</p> <p>AskAt社/OCT社</p>	<p>COX2阻害薬 疼痛</p> <p>AskAt社</p>
<p>COX2阻害薬 疼痛（動物薬）</p> <p>AskAt社</p>	<p>EP4拮抗薬 がん（がん免疫）</p> <p>AskAt社</p>	<p>タミバロテン 急性骨髄性白血病</p> <p>Syros Pharmaceuticals社</p>
<p>5-HT₄作動薬 消化管運動障害（動物薬）</p> <p>Vetbiolix社</p>	<p>5-HT₄部分作動薬 アルツハイマー病</p> <p>AskAt社</p>	<p>P2X₇受容体拮抗薬 疼痛</p> <p>旭化成ファーマ社/リリー社</p>
		<p>タミバロテン 骨髄異形成症候群</p> <p>Syros Pharmaceuticals社</p>

前臨床	フェーズ1 (第I相/P1)	フェーズ2 (第II相/P2)	フェーズ3 (第III相/P3)
モチリン受容体作動薬 胃不全麻痺ほか	テゴプラザン（日本） 胃食道逆流症ほか		
グレリン受容体作動薬 脊髄損傷に伴う便秘、 がんに伴う食欲不振・悪液質	5-HT ₄ 作動薬 胃不全麻痺ほか		
TRPM8遮断薬（日本） 慢性疼痛	5-HT _{2B} 拮抗薬 下痢型IBS		
IRAK-M分解誘導薬 がん（がん免疫）			

注1) 前臨床段階以降にあるプログラムについて標的疾患ごとにわけて表示しています。

注2) 国・地域によって開発段階に差がある場合は、最も進んだ段階を表示しています。

詳細につきましては当社ウェブサイト (<https://www.raqualia.com/ja/index.html>) の「パイプライン」にてご確認ください。



主な標的疾患の潜在市場規模

疾患名	当社開発パイプライン	患者数	市場規模（地域）	既存薬
胃食道逆流症 ^{1,2)}	テゴプラザン	5,800万人（米国） 1,700万人（日本）	2兆円（全世界） 3,700億円（米国） 2,500億円（日本）	H2RA、PPI、 ボノプラザン
疼痛 ^{3,4)}	EP4拮抗薬、 COX2阻害薬、 TRPM8遮断薬、 P2X7受容体拮抗薬、 ナトリウムチャンネル遮断薬	5,000万人（米国） 2,300万人（日本）	2兆円（全世界） 3,000億円（日本）	プレガバリン、 デュロキセチン、 セレコキシブ 他
がん免疫 ^{5,6)}	EP4拮抗薬 IRAK-M分解誘導薬	がん患者の約12%が がん免疫療法に応答	10兆円（全世界）	ニボルマブ、 ペムブロリズマブ 他
骨髄異形成症候群 ⁷⁾ (MDS)	タミバロテン	年間新規罹患者 18,500人（米国・EU）	6,300億円 ⁸⁾ （全世界）	アザシチジン 他
急性骨髄性白血病 ⁷⁾ (AML)	タミバロテン	年間新規罹患者 25,000人（米国・EU）	1兆円 ⁸⁾ （全世界）	アザシチジン、 ベネトクラクス 他

以下の資料に基づき当社で推計：1) HKイノエン社資料；2) Sci. Rep. 10:5814 (2020)；3) 日経バイオ年鑑2021 (2020)；4) 日経バイオ年鑑2022 (2021)；5) Cancer Immunotherapy Market: Global Industry Trends, Share, Size, Growth, Opportunity and Forecast 2022-2027 (2022)；6) JAMA Network Open. 2(5):e192535 (2019)；7) Syros社 Corporate Presentation March 2024；8) 2028年における市場規模（換算レート：1米ドル=135円）

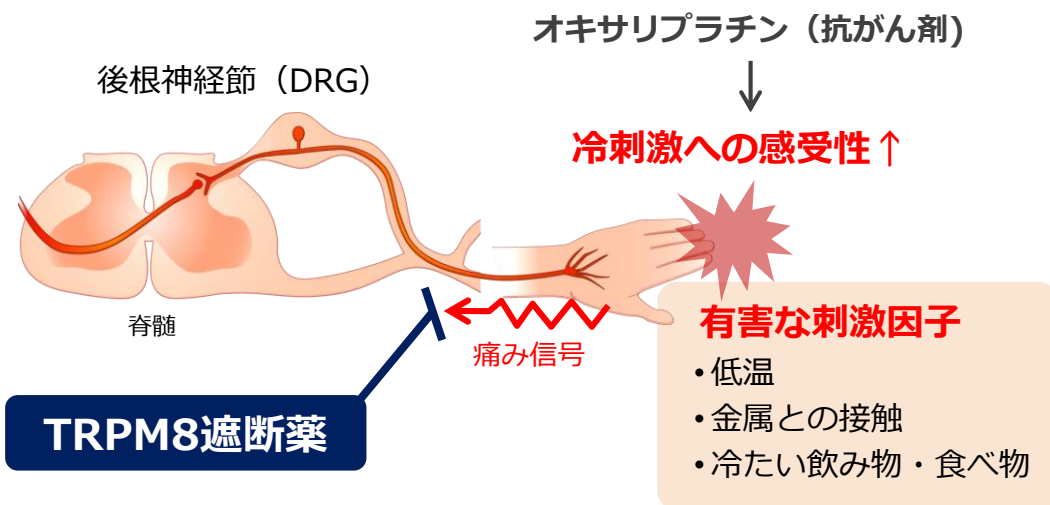


TRPM8遮断薬 RQ-00434739/XG2002

作用機序	冷感受容体であるTRPM8の直接阻害により痛み信号の伝達を抑制
想定適応症	慢性疼痛
導出先	Xgene Pharmaceutical Co. Ltd. (Xgene社)
ステージ	豪州でフェーズ1試験実施中



TRPM8と痛みのメカニズム



疼痛薬の市場規模

患者数	市場規模
5,000万人 (米国)	2兆円 (全世界)
2,300万人 (日本)	3,000億円 (日本)

これまでの進捗

- 2023年 前臨床試験完了
 - ✓ 複数の疼痛モデル動物で優れた鎮痛効果
 - ✓ 良好な安全性プロファイル

2024年 豪州で第I相臨床試験開始



タミバロテン TM-411/AM80/SY-1425

作用機序	レチノイン酸受容体の α サブタイプ RAR α の選択的作動薬
製品目標	RAR α をバイオマーカーとしたPrecision Medicineによる新薬承認
権利状況	がん適応の北米および欧州における開発・販売権：Syros Pharmaceuticals Inc. (米国)



Syros社による開発状況

Fast Track

骨髄異形成症候群 (MDS)

フェーズ 3 試験 "SELECT-MDS-1" 実施中

未治療高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用

NEW

患者組み入れ完了

↳ 2024年4Q半ばまでにCR²⁾のピボタルデータを発表予定

Fast Track

急性骨髄性白血病 (AML)

フェーズ 2 試験 "SELECT-AML-1" 実施中

未治療unfit¹⁾-AMLを対象としたベネトクラクス・アザシチジンとの併用 (2023年に無作為化試験パートの結果を発表済)

↳ 2024年3Qに追加データを発表予定

NEW

FDAよりファストトラック³⁾指定を受領

2024年4月10日公表

1) unfit：高齢者などで標準化学療法に適さない患者さんの状態； 2) CR：完全奏効率； 3) ファストトラック：新薬の承認審査を優先的に行う制度のひとつ。



主要プログラムの2024年中の想定イベント

プログラム		前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	承認審査	2024年中の想定イベント	導出先	
ELURA® ネコの体重減少		欧州・日本承認						発売	エランコ社
テゴプラザン 胃酸分泌抑制剤		P3 実施中						P3 終了	HKイノエン社 Braintree社
		P1 終了						導出契約	※導出活動中
タミバロテン 抗悪性腫瘍薬	MDS ファストトラック指定	P3 実施中						P3 試験結果 (mid-4Q)	Syros社
	AML ファストトラック指定	P2 実施中						P2 試験追加データ (3Q)	
P2X7受容体拮抗薬 疼痛		P2 実施中						P2 試験結果	旭化成ファーマ社 リリー社
CB2作動薬 CIPN/IBSに伴う疼痛		P1 実施中						次段階の臨床試験	AskAt社 OCT社
TRPM8遮断薬 慢性疼痛		P1 開始						P1 試験結果	Xgene社
グレリン受容体作動薬 便秘、悪液質		前臨床試験 実施中						前臨床試験完了	※自社開発

※お問い合わせ件数などに基づき、投資家の皆様の注目度が高いと当社が判断したプログラムに限定してお示ししています。想定される進捗イベントの内容や時期は、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。

5

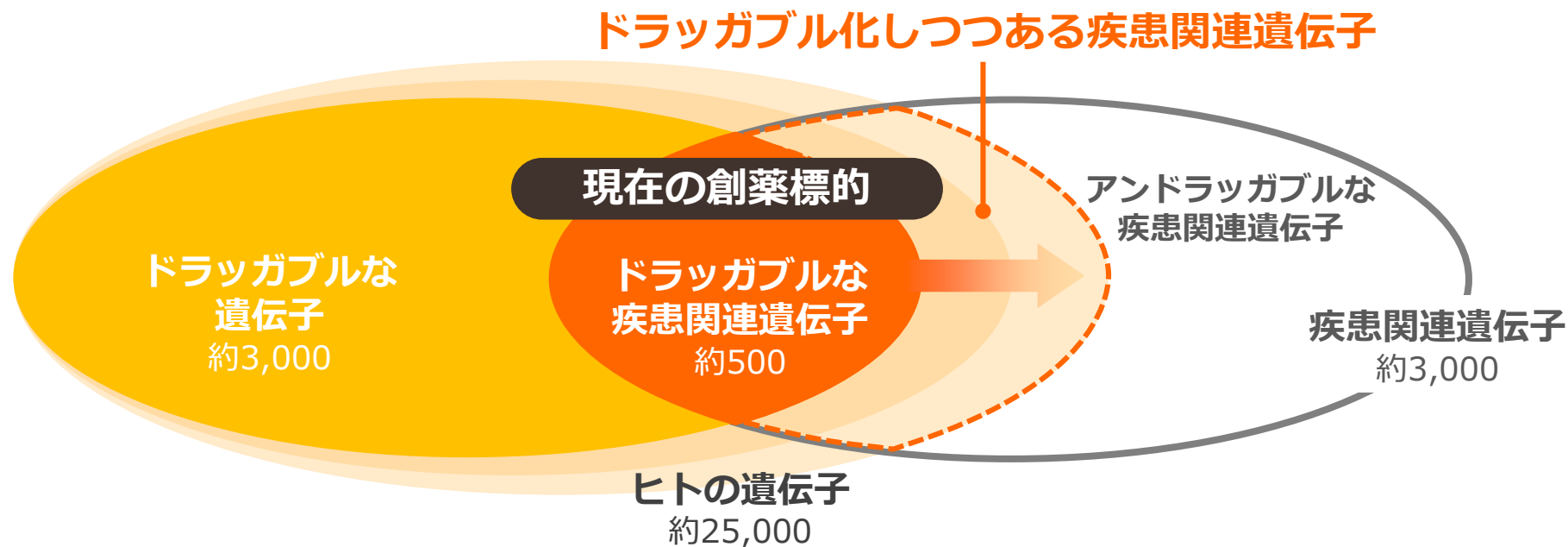
成長戦略

企業価値・株主価値の向上に向けて



アンドラッグガブルを **ドラッグガブル** へ

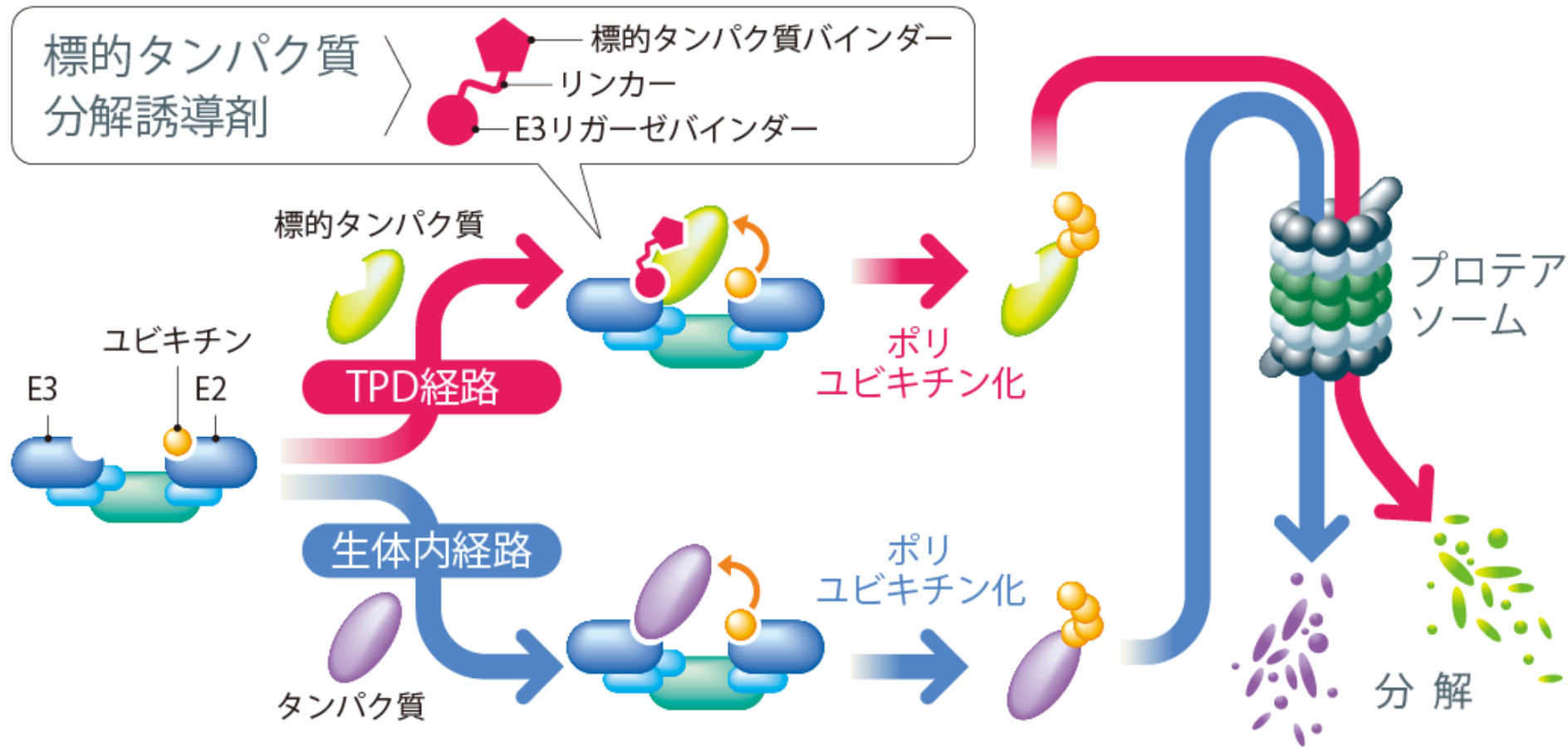
新規モダリティやインフォマティクス・AIの創薬応用等の新技术が領域を拡大



ドラッグガブルとは、化合物・抗体等の物質により受容体等の標的の分子の機能を調節できる可能性が高いことを意味し、ドラッグガブルかそうでないかによって新薬候補を生み出せるかどうかが大きく左右されます。



生体内に備わる不要タンパク質除去機構を利用した**新たなモダリティ**

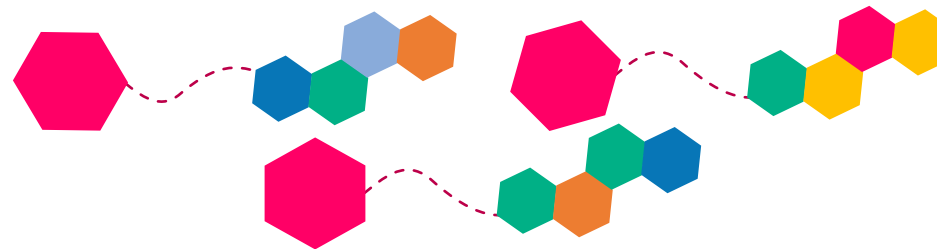
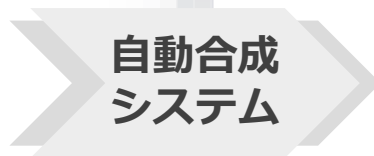




Rapid Protein Proteolysis Inducer Discovery System

E3リガーゼ結合フラグメント

高生産性 合成システム



- ◆600以上ものE3リガーゼの中から、最適な組合せを迅速に同定
- ◆独自のE3リガーゼバインダーも同定可能



プラットフォーム技術
RaPPIDTM

共同開発パイプライン

製薬企業との共同研究パイプライン



自社創薬パイプライン

ファーストインクラスの創薬プログラム



プラットフォーム技術を用いた
標的タンパク質分解誘導剤の探索



初期目標達成で一時金受領（2億円）

アンドラッグダブルターゲットを標的とした自社創薬

- ファーストインクラスの開発候補品の創出
- プラットフォーム技術の付加価値向上

自社創薬プログラム：IRAK-M分解誘導薬 FIM-001

標的と作用機序	IRAK-Mの分解による免疫抑制機構の解除を機序としたがん免疫療法
想定適応疾患	各種がん（非小細胞肺癌，膵臓がん ほか）
開発ステージ	前臨床試験実施中

FIM-001の特長

- IRAK-M分解誘導薬のファーストインクラス
- がん免疫療法における新規メカニズム
- 免疫チェックポイント阻害剤抵抗性克服の可能性

想定される主な適応がん種と年間罹患者数

がん種	新規罹患者数※
非小細胞肺癌	米国: 18万人/年 日本: 11万人/年
膵臓がん	米国: 4.9万人/年 日本: 3.2万人/年

※出所：Biomedtracker (Citeline)

免疫チェックポイント阻害剤とは異なるメカニズムによるがん免疫療法を目指す

がん免疫療法におけるFIM-001のメカニズム

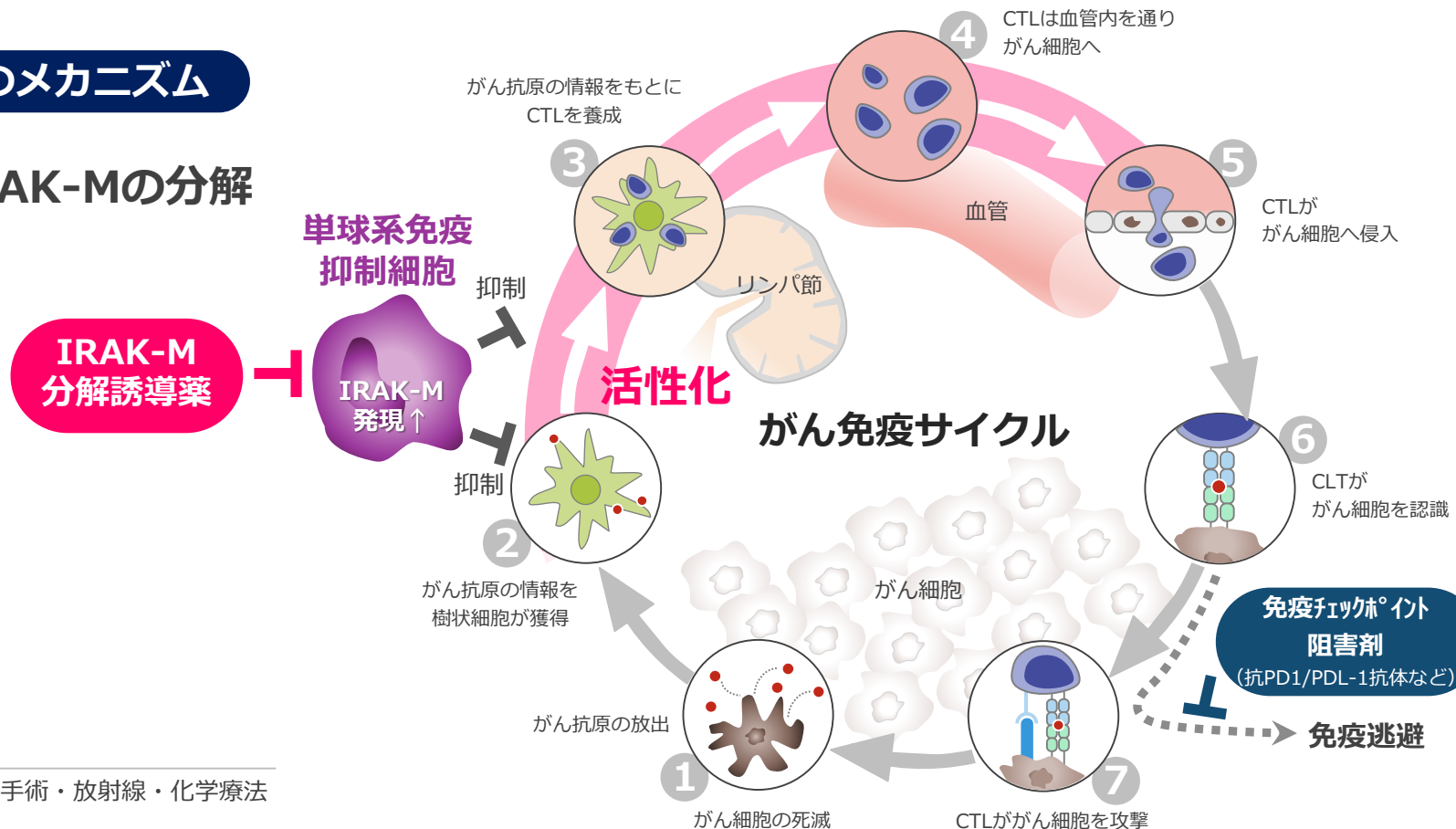
単球系免疫抑制細胞におけるIRAK-Mの分解
= 全身性の免疫抑制機構解除

↓
がん免疫サイクルの活性化
↓
腫瘍がより炎症状態へ
↓
抗腫瘍効果

がん免疫療法とは

体内に備わる免疫システムを活用したがんの治療法。切除手術・放射線・化学療法に続く第4のがん治療法。

免疫システムの強化により、がん免疫サイクルを活性化することでがん細胞への撃退力を強化し、がん細胞を駆逐する。免疫チェックポイント阻害剤が、代表的ながん免疫療法の薬として認知されている。



樹状細胞：体内における免疫の司令塔の役目
CTL：細胞障害性T細胞。がん細胞を攻撃し死滅させる
単球系免疫抑制細胞：骨髄由来の細胞で、免疫反応を抑制する

参照：Chen and Mellman, Immunity (2013)



各パートナーとのオープンイノベーション活動が進行中



SOCIUM

AIの活用で当社化合物の難病・希少疾患への新たな適応を探索

ソシウム株式会社：独自の難病・希少疾患データベースとAI創薬プラットフォーム



DWTI

当社化合物（イオンチャンネル標的）の眼疾患への適応を探索

株式会社デ・ウエスタン・セラピテクス研究所：眼科領域の創薬ノウハウ



イオンチャンネルの3次元立体構造に基づく低分子創薬

leadXpro AG：クライオ電子顕微鏡などを用いた膜タンパクの構造解析技術



STAND
THERAPEUTICS

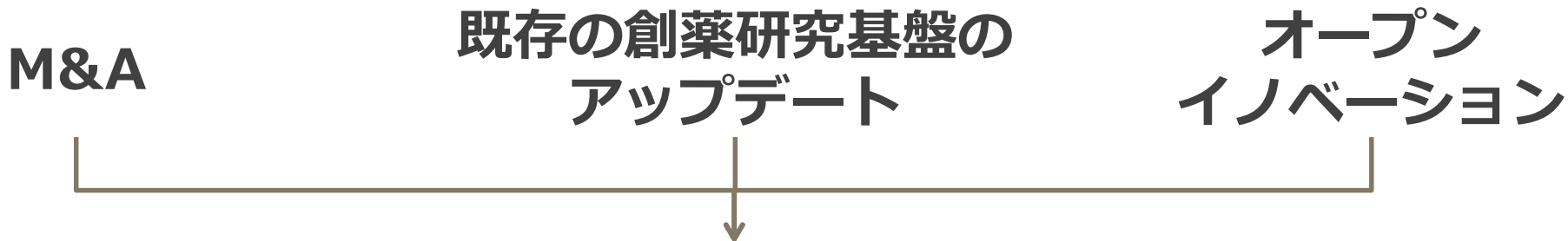
新規モダリティの細胞内抗体による革新的創薬

STAND Therapeutics株式会社：独自技術（STAND技術）で細胞内から標的分子にアプローチ



mRNA標的の低分子化合物から新たな抗がん剤を創出

株式会社Veritas In Silico：mRNA上で標的部分構造を見出すインフォマティクス技術



創薬バリューチェーンの強化

疾患領域

神経疾患・遺伝性疾患
希少疾患・がん

経営資源

優秀な人材
イノベーションエンジン

モダリティ

低分子モダリティの拡張
新規モダリティの導入

アンドラッグガブル を **ドラッグガブル** へ

6

資金の状況と配分



ファイメクス株式会社の買収にかかる資金調達として シンジケートローンによる長期借入を実施

借入先	株式会社みずほ銀行をアレンジャー、 株式会社商工組合中央金庫をコ・アレンジャーとするシンジケート団
借入金額	35億円
借入実行日	2024年3月25日
借入期間	7年（84か月）
利率	基準金利＋スプレッド
返済方法	2024年6月末日を初回とし、以降3ヶ月毎に元金均等返済
担保等の有無	ファイメクス株式会社株式・特定債務保証
手数料	シンジケートローン手数料 140百万円
主な財務制限条項	2024年12月期以降、各年度の決算期における単体の損益計算書に示される数値で計算されるEBITDAが2期連続してマイナスとならないこと。 ※（EBITDAの計算式）営業利益＋減価償却費



(2024年3月31日現在)

資金の状況

2024年～2026年の
事業収益見通し

144億円

手元資金
(2024年第1四半期末)

41億円

借入余力
(コミットメントライン)

17億円

エクイティ調達
(新株予約権：計画)

20億円

企業価値最大化に向けた投資

資金の配分

探索研究投資¹⁾
(既存領域の拡充)

58億円 (3カ年)

前臨床・臨床開発投資¹⁾
(プロジェクトの価値向上)

17億円 (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・パイプラインの獲得等)

株主還元

株主配当金

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

1) 人件費を含みます。

イノベーションの力で、いのちに陽をもたらす



RaQualia
innovators for life

ラクオリア創薬株式会社