

平成26年度12月期(第7期) 第2四半期決算説明会

平成26年8月8日
ラクオリア創薬株式会社



RaQualia
Innovators for life



目次

平成26年度12月期 上半期実績	3
主な研究開発ポートフォリオの状況	8
導出済みポートフォリオの状況	17
平成26年度予算の進捗	23
2014年12月期 ラクオリアの今後の取り組み	25
参考資料	37

平成26年度12月期 上半期実績

平成26年度12月期(第7期)上期の概況

全般

- 当社の上期業績は、当初の計画通り順調に推移しております。当社が保有するアラタナ社株式の売却により、売却益1,542百万円を計上、上半期の当期純利益は461百万円となりました。
- 自社及び提携先での臨床試験（開発）は概ね計画通り推移し、また、共同研究もそれぞれ順調に推移しております。
- 産学連携による新たな契約の締結と収益の根幹となる知的財産権の強化により、計画達成に向け、引き続き邁進してまいります。

事業面

- アシッドポンプ拮抗薬（RQ-00000004）の国内第 I 相臨床試験の開始
- ダルババンシン（RQ-00000002、導出先Durata Therapeutics）が、米国FDA承認取得
- 名古屋大学との産学協同研究部門設置契約締結及び「薬効解析部門」設置
- 京都大学iPS細胞研究所ならびにiPSアカデミアジャパンと共同研究締結
- 本社、薬効薬理グループ移転（知多郡武豊→名古屋駅前、名古屋大学）
- 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬の日本での特許査定

業績

- 事業収益；95百万円（前期事業収益；82百万円）
- 営業利益；△993百万円（前期営業利益；△1,133百万円）
- 経常利益；△1,060百万円（前期経常利益；△874百万円）
- 当期純利益；461百万円（前期当期純利益；△903百万円）

平成26年度12月期 上期 損益計算書

(単位:百万円)

	平成26年12月期 第2四半期 (実績)	平成25年12月期 第2四半期 (前年実績)	前年比		要因
			増減	増減率	
事業収益	95	82	13	—	
事業費用	1,089	1,216	△ 127	△ 10.4%	本社・研究所移転
営業損失(△)	△ 993	△ 1,133	140	△ 12.3%	
経常損失(△)	△ 1,060	△ 874	△ 186	21.3%	
四半期純利益又は 四半期純損失(△)	461	△ 903	1,365	△ 151.1%	投資有価証券売却益

決算ハイライト

- 当上半期における事業収益は共同研究による収入、マイルストーン収入を計上しました
- 事業費用は、本社・研究所移転に伴い、前年比で1.27億円を削減し、10.4%減少しました
- 特別利益として、当社投資先であるアラタナ社の株式売却益を計上した結果、前年比で13.65億円の増益となりました

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。

平成26年度12月期 上期 貸借対照表

(単位:百万円)

	平成26年12月期 (当第2四半期末)		平成25年12月期 (前年度期末)		増減	要因
	(実績)	(構成比)	(実績)	(構成比)		
流動資産合計	5,145	86.5%	4,363	65.6%	782	
現預金	3,267	54.9%	4,035	60.7%	△ 768	
その他	1,878	31.6%	328	4.9%	1,550	投資有価証券の運用
固定資産	805	13.5%	2,284	34.4%	△ 1,479	
有形無形固定資産	54	0.9%	18	0.3%	36	
投資その他	751	12.6%	2,265	34.1%	△ 1,514	投資有価証券の売却
資産合計	5,950	100.0%	6,648	100.0%	△ 698	
負債合計	917	15.4%	902	13.6%	15	
純資産合計	5,033	84.6%	5,746	86.4%	△ 713	
負債・純資産合計	5,950	100.0%	6,648	100.0%	△ 698	

決算ハイライト

- 現預貯金残高は平成25年12月末比で7.68億円減少
- 流動資産その他は、アラタナ社の株式売却益を資金運用したことに伴い平成25年12月末比で15.5億円増加
- 純資産合計は、平成25年12月末比で7.13億円減少

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。

平成26年度12月期 上期 キャッシュフロー

(単位:百万円)

	平成26年12月 第2四半期 (実績)	平成25年12月 第2四半期 (前年実績)	増減	要因
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 1,097	△ 1,176	79	本社・研究所移転等
投資活動によるキャッシュ・フロー	243	△ 7	250	有価証券売却益及び資金運用
財務活動によるキャッシュ・フロー	110	0	110	社債による資金調達 (※子会社)
現金及び現金同等物の増減額	△ 774	△ 1,179	405	
現金及び現金同等物の期首残高	4,035	4,889	△ 854	
現金及び現金同等物の期末残高	3,260	3,710	△ 450	

決算ハイライト

- 営業活動によるCFは、本社・研究所移転等に伴い、前年比で79百万円減少しました
- 投資活動によるCFは、投資有価証券の売却益と資金運用によって、前年比で2.5億円増加しました
- 財務活動によるCFは、子会社において社債による資金調達を行ったため1.1億円増加しました
- 現金及び現金同等物の期首残高は、前年比で8.54億円減少し、期末残高は4.5億円減少しました

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。

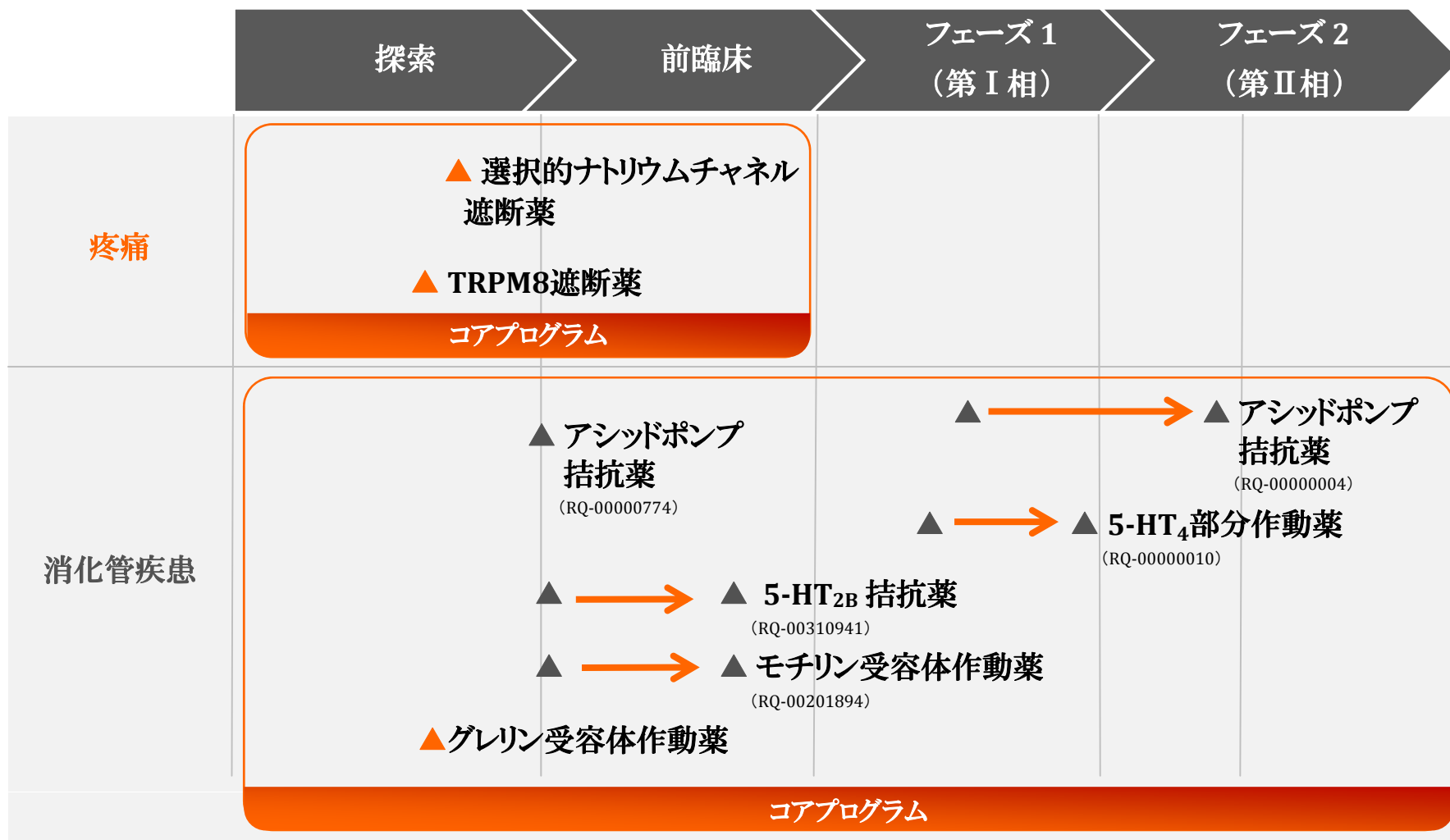
主な研究開発ポートフォリオの状況



主な研究開発ポートフォリオの状況

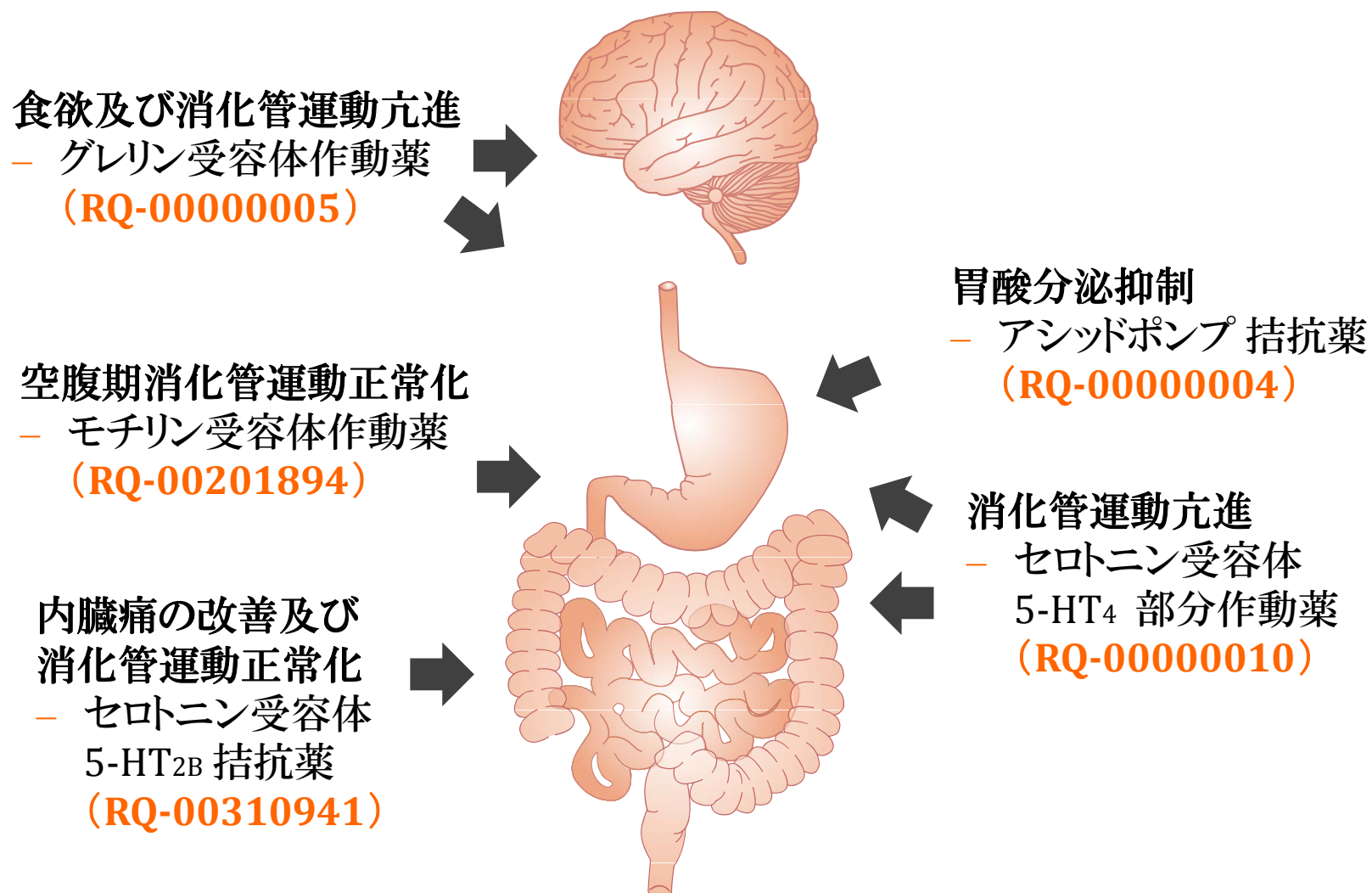
- 導出候補プログラムとステージ

2014年6月現在



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。

充実した消化管疾患のポートフォリオ





コア・プロジェクトの開発状況

アシッドポンプ拮抗薬(RQ-00000004)

開発状況

- 2013年 3月 米国における物質特許 特許査定
- 2013年 5月 CJ第一製糖社が韓国で第Ⅱ相臨床試験を開始
- 2013年 10月 米国における用途特許 特許査定
- 2014年 6月 日本における第Ⅰ相臨床試験の開始

5-HT4部分作動薬(RQ-00000010)

開発状況

- 2013年 5月 英国にて第Ⅰ相臨床試験終了
- 2014年 5月 米国ヴァージニア・コモンウェルス大学でパーキンソン病患者を対象とした医師主導臨床試験を開始
- 2014年 ~ グローバルでの第Ⅱ相臨床試験の実施・検討



パイプラインの状況

- コアプログラム: ヒト領域

消化器疾患領域

- アシッドポンプ拮抗薬(RQ-00000004)は、平成26年6月に国内で第 I 相臨床試験を開始しました。
- 5-HT₄部分作動薬(RQ-00000010)は、グローバルでの第 II 相臨床試験の実施を検討中です。
- 5-HT_{2B}拮抗薬(RQ-00310941)、モチリン受容体作動薬(RQ-00201894)は、報告書の作成を進めております。
- グレリン受容体作動薬は、候補化合物を探索中です。

疼痛領域

- 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬、TRPM8遮断薬は候補化合物を探索中です。

当社が注力する領域

プロジェクト	化合物	主適応症	探索	前臨床試験	臨床試験			申請	承認	販売	導出先	実施地域	疾患領域
					第 I 相	第 II 相	第 III 相						
アシッドポンプ拮抗薬	RQ-00000004	胃食道逆流症	○	○	●						—	日本	消化器疾患
5-HT ₄ 部分作動薬	RQ-00000010		○	○	●	○					—	英国	
5-HT _{2B} 拮抗薬	RQ-00310941	過敏性腸症候群 (IBS)	○	●							—	日本	
モチリン受容体作動薬	RQ-00201894	胃不全麻痺	○	●							—	日本	
グレリン受容体作動薬	—	ガンに伴う食欲不振	●								—	日本	疼痛
選択的ナトリウムチャンネル遮断薬	—	炎症性・神経因性疼痛	●								—	日本	
TRPM8遮断薬	—	神経因性疼痛	●								—	日本	

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。



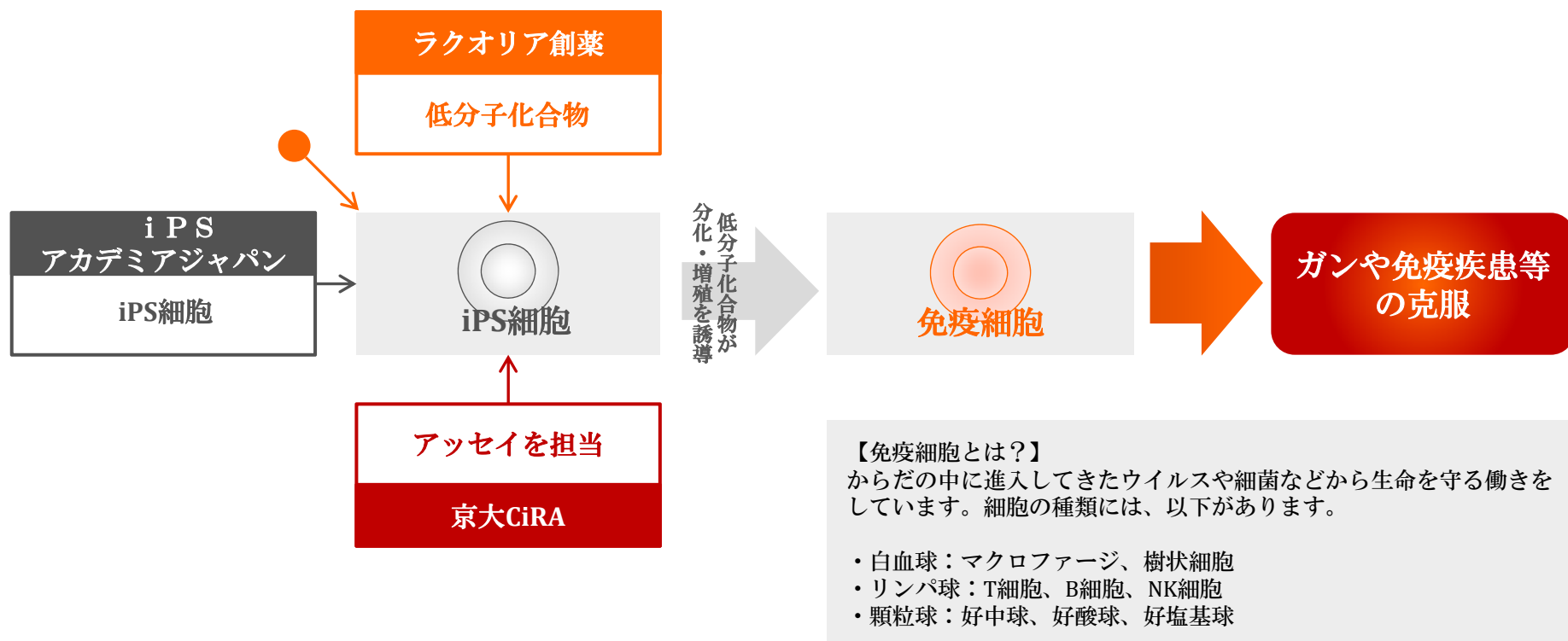
共同研究契約（2010年～2014年7月）

- | | | |
|-------|-----|---|
| 2010年 | 12月 | イーライ・リリー(米国)と特定のイオンチャネルプロジェクト |
| 2012年 | 10月 | 味の素製薬と特定のイオンチャネルプロジェクト |
| 2013年 | 2月 | インタープロテインと蛋白質間相互作用を標的とした創薬研究 |
| | 3月 | カルナバイオサイエンスと特定のキナーゼを標的とした創薬研究 |
| 2014年 | 11月 | 旭化成ファーマと特定のイオンチャネルプロジェクト |
| | 4月 | 旭化成ファーマと共同研究でマイルストーン達成 |
| | 5月 | 京都大学iPS細胞研究所ならびにiPSアカデミアジャパンと共同研究 |
| 2014年 | 6月 | イーライ・リリー(米国)との共同研究契約の満了に伴い覚書締結 |
| | 7月 | 当社が参加する「製造コストの大幅削減を可能にするエイズ治療薬中間体の革新的合成」が公益財団法人科学技術交流財団により共同研究推進事業に採択 |

共同研究TOPICS(1)

京大CiRA(※)、iPSアカデミアジャパンとの共同研究の概要

- 当社の保有する化合物ライブラリーより、iPS細胞から免疫細胞への分化・増殖を誘導する低分子化合物の探索をします。
- 本共同研究を進めることで、iPS細胞から免疫細胞の効率的な作成技術を開発することを目指します。



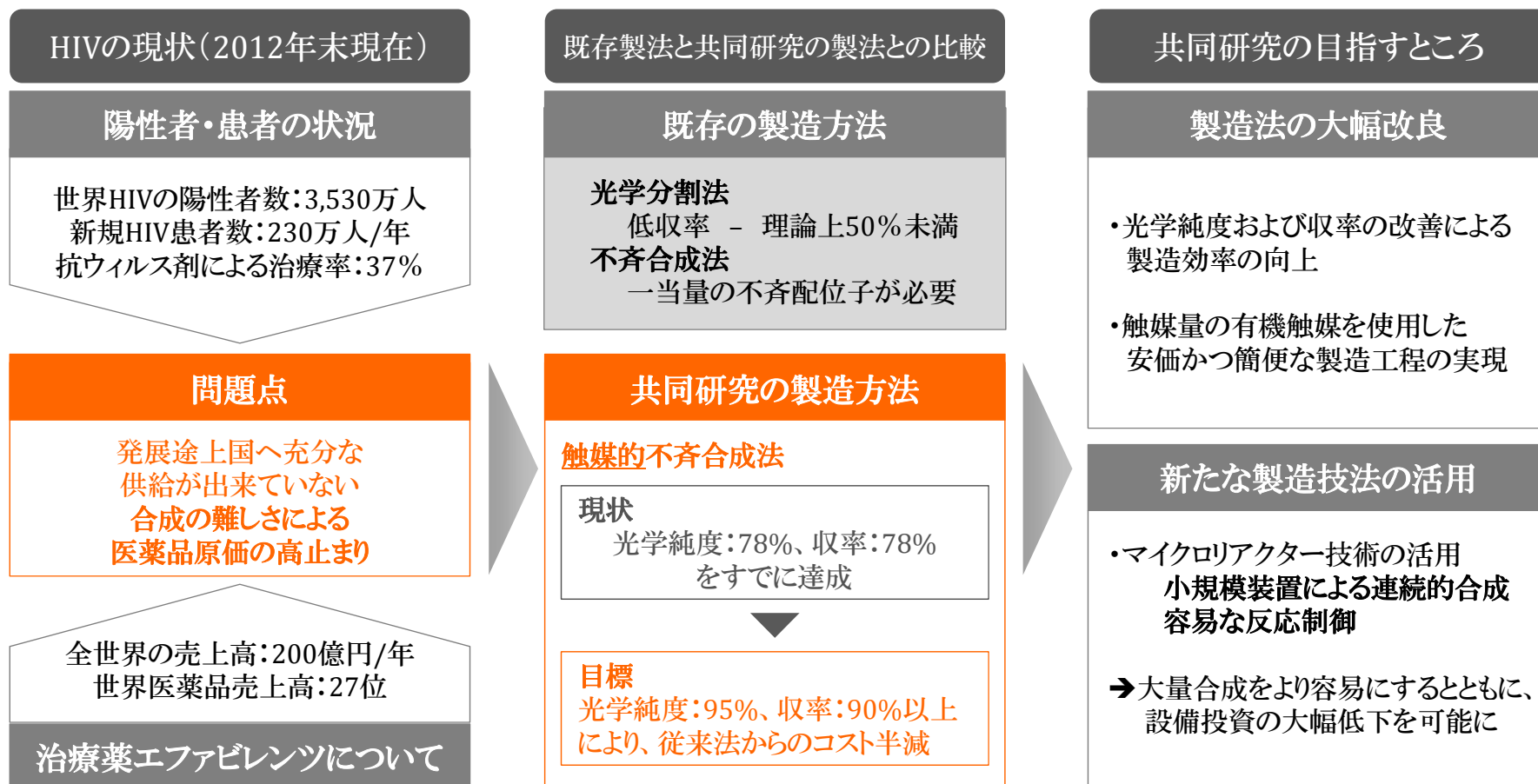
※京都大学iPS細胞研究所



共同研究TOPICS(2)

名古屋工業大学との共同研究の概要

- テーマ：『製造コストの大幅削減を可能にするエイズ治療薬中間体の革新的合成』
- チーム：統括研究者 名古屋工業大学 大学院工学科 未来材料創成工学専攻 教授 柴田 哲男
共同研究者 ラクオリア創薬、黒金化成、産業技術総合研究所
研究支援者 科学技術交流財団、東ソー(アドバイザー)



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。

共同研究の状況

- 味の素製薬(株)と「消化器領域における特定のイオンチャネルを標的とした共同研究」を実施中です。
- 旭化成ファーマ(株)と「特定のイオンチャネルを標的とした共同研究」を実施中です。
- インタープロテイン(株)と「疼痛領域における特定の蛋白質間相互作用を標的とした共同研究」を実施中です。
- カルナバイオサイエンス(株)と「特定のキナーゼを標的とした創薬研究」を実施中です。

当社が注力する領域

ターゲット	化合物	適応症	探索	前臨床試験	臨床試験			申請	承認	販売	共同研究先	実施地域
					第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相					
イオンチャネル	同定中	消化器	● 共同研究実施中								味の素製薬	日本
		非開示	● 共同研究実施中								旭化成ファーマ	日本
特定蛋白質相互作用	同定中	疼痛	● 共同研究実施中								インタープロテイン	日本
特定キナーゼ	同定中	非開示	● 共同研究実施中								カルナバイオサイエンス	日本

導出済みポートフォリオの状況



主なプログラム導出提携先の進捗

Aratna Therapeutics Inc.

2014年 5月 Aratana社がEP4拮抗薬のイヌにおける大規模臨床試験を開始

Durata Therapeutics Inc.

2014年 4月 Durata社のダルババンシンが米国FDA諮問委員会による承認推奨
5月 Durata社のダルババンシンが米国FDAで承認
7月 Durata社のダルババンシンが米国で販売開始

CJ Healthcare Corporation (旧CJ第一製糖)

2013年 5月 CJヘルスケアによるアシッドポンプ拮抗薬の韓国フェーズ2の開始

2014年 ~ アシッドポンプ拮抗薬の韓国フェーズ2終了予定



主な契約締結済み研究開発ポートフォリオの状況

2014年8月現在

共同研究

プログラム	共同研究先	想定疾患領域
特定のイオンチャネル	味の素製薬株式会社	消化器系疾患領域
	旭化成ファーマ株式会社	(契約により非公開)

導出

プログラム	化合物コード	導出先	権利
EP ₄ 拮抗薬	RQ-00000007	丸石製薬	日本、韓国、中国、台湾 (注射剤)
		Aratana Therapeutics Inc.	全世界 (動物薬)
アシッドポンプ拮抗薬	RQ-00000004 RQ-00000774	CJヘルスケア (※旧CJ 第一製糖)	韓国、中国、台湾
グレリン受容体作動薬	RQ-00000005	Aratana Therapeutics Inc.	全世界 (動物薬)
ダルババンシン (抗MRSA抗菌剤)	RQ-00000002	Durata Therapeutics Inc.	日本
ジプラシドン (統合失調症・双極性障害薬)	RQ-00000003	Meiji Seika ファルマ	日本
5-HT ₄ 部分作動薬 (消化管領域)	RQ-00000010	CJヘルスケア (※旧CJ 第一製糖)	韓国、中国、台湾、インド、 東南アジア

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。

パイプラインの状況（ヒト領域）

- **ダルババンシン(RQ-00000002)は、米国FDAに申請し、承認を取得。販売を開始しました。**
- **ジプラシドン(RQ-00000003)は、第Ⅲ相臨床試験(国内)開始に向け支援を続けてまいります。**
- **アシッドポンプ拮抗薬(RQ-00000004)は、第Ⅱ相臨床試験(韓国)実施中であり、年内完了に向けて支援を続けて参ります。**
- **5-HT₄部分作動薬(RQ-00000010)は、第Ⅰ相臨床試験(韓国)開始に向け支援を続けてまいります。**
- **EP4拮抗薬については丸石社による開発戦略及び計画策定を引き続き支援し、今後のマイルストーン収益及びロイヤリティ収益の早期獲得に努めます。**

プロジェクト	化合物	主適応症	探索・前臨床	臨床試験			申請	承認	販売	導出先	契約地域
				第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相					
ダルババンシン	RQ-00000002	MRSA感染症	○	○	○	○	●	●	●	Durata Therapeutics	日本
ジプラシドン	RQ-00000003	統合失調症 双極性障害	○	○	○	●				Meiji Seika ファルマ	日本
アシッドポンプ拮抗薬	RQ-00000004	胃食道逆流症	○	○	●					CJヘルスケア	韓国・中国・台湾
	RQ-00000774		○ 計画中								日本
5-HT ₄ 部分作動薬	RQ-00000010	胃不全麻痺 機能性胃腸症	○ 第Ⅲ相準備中							CJヘルスケア	韓国、中国、台湾、インド、東アジア
EP4拮抗薬	RQ-00000007	慢性炎症性疼痛、急性痛等	○ 計画中							丸石製薬	日本、中国、韓国、台湾

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。



パイプラインの状況(動物薬)

- グレリン受容体作動薬については、ヒトのみならずペット動物向けの食欲亢進薬として開発できるよう、引き続き導出先企業と連携して開発に必要な情報を提供してまいります。
- EP4拮抗薬については、平成26年5月に大規模試験を開始しました。ヒトのみならずペット動物の鎮痛剤として開発できるよう、引き続き導出先企業と連携して支援を続けてまいります。

プロジェクト	化合物	主適応症	探索研究～ 前臨床試験	臨床試験		上市	導出先	契約地域
				容量探索	大規模			
グレリン受容体作動薬	RQ-00000005	体重減少、 食欲不振	○	○	●		Aratana Therapeutics	全世界
EP4拮抗薬	RQ-00000007	変形性関節症	○	○	●			

大規模試験実施中 (UP DATE)

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。



世界に展開するパートナーシップ

- 当社のライセンス・パートナー



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。

平成26年度予算の進捗



平成26年度上期実績と平成26年度予算

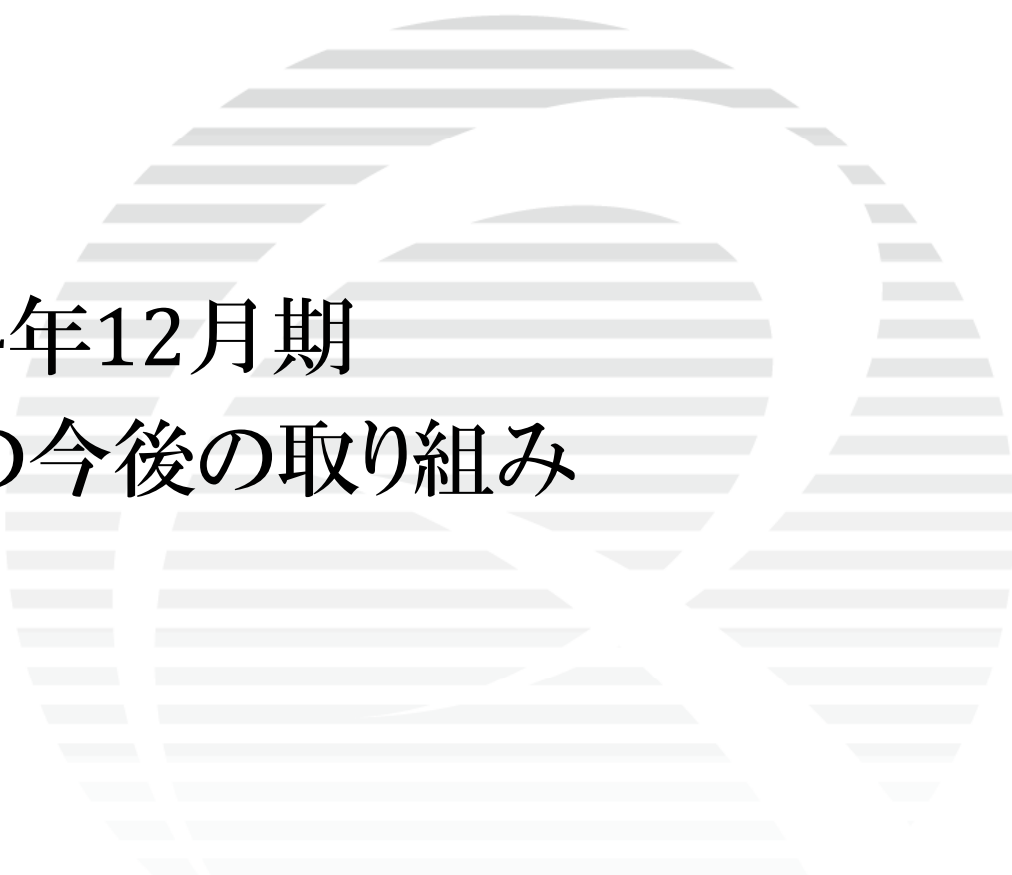
(単位:百万円)

	事業収益	事業費用	営業損失	経常損失	当期純利益
平成26年度上期(実績)	95	1,089	△993	△1,060	461
平成26年度通期(予算)	300	1,984	△1,684	△1,685	△282

平成26年度予算の見通し

事業収益	<ul style="list-style-type: none">・ 消化器疾患プログラムの導出による一時金収入の獲得・ 共同研究及びアライアンス・マネジメントの推進によるマイルストーン収入の獲得
事業費用	<ul style="list-style-type: none">・ 名古屋大学への移転による下期施設関連費の削減効果
当期純損失	<ul style="list-style-type: none">・ 保有資産有効活用による投資有価証券売却益(約15億円)計上(2014年2月)

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。



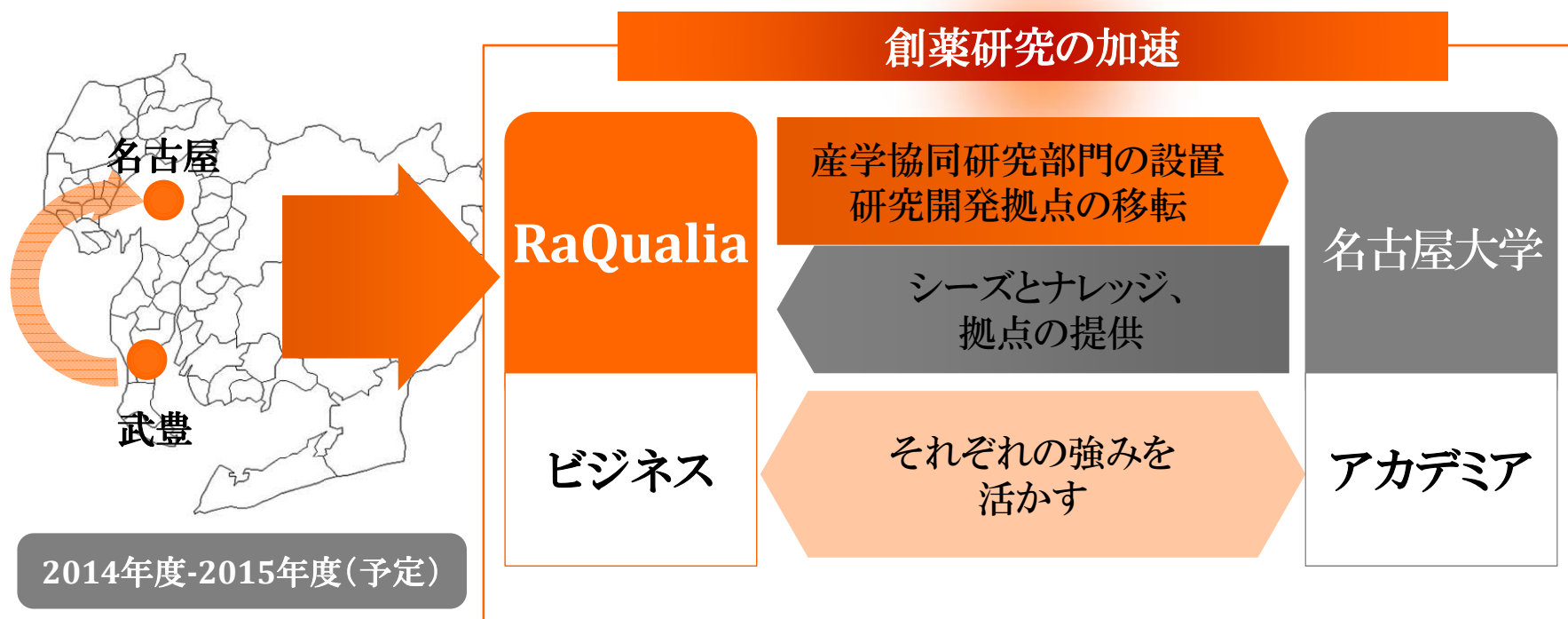
2014年12月期 ラクオリアの今後の取り組み

企業価値向上に向けた取り組み

- 1 コアである消化器疾患プログラムの自社開発による開発ステージのアップとその価値の向上、プログラム導出による一時金収入の獲得
- 2 アカデミア(名古屋大学)との産学連携とビジネスパートナーとの共同研究の推進による開発候補品の創製
- 3 プログラム導出提携先とのアライアンスマネジメントによる早期収益化の実現
- 4 段階的な研究開発拠点の移転による固定費(施設関連費用)の圧縮と安定収入獲得までの所謂「死の谷」を越えうる資金調達の検討と実行
- 5 知的財産戦略による収益の源泉である特許の強化
- 6 AskAt社の事業化推進

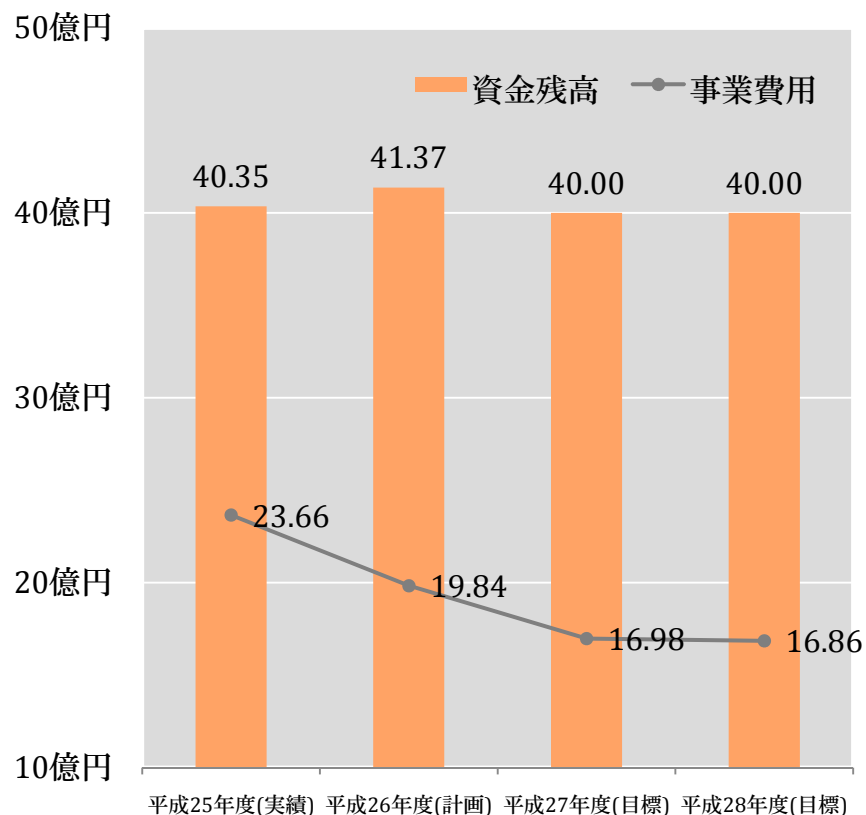
産学連携による創薬研究の加速

第一弾として名古屋大学に産学協同研究部門の設置と研究開発拠点を移転



アカデミアとのコラボレーションを積極的に活用し、創薬研究を加速

資金計画（3カ年）



基本方針

- 毎年20億円の資金調達を実現
- 3カ年計画の最終年度の事業費用は約16-17億円を目指す。
- 各年度の期末資金残高は約40億円を維持
- 余剰資金はコアプログラムの開発費用とし、プログラム価値の向上を目指し、早期の収益化を目指す。

資金調達方法

- 新株予約権の行使（第三者割当増資）
- プロジェクト・ファイナンス
- 保有資産の有効利用

安定収入獲得までの所謂「死の谷」を越えうる資金調達の検討と実行



資金調達の状況

2013年7月4日にメリルリンチ日本証券を割当先とした第8回新株予約権を発行

➡ **約2.7億円を調達** *2014年7月22日に残存する新株予約権(2,210個)を取得・消却

2013年12月11日に当社保有のアラタナ社株式(約56万株)の売却

➡ **約USD 10Mを調達(売却益:8億円)**

2014年2月4日に当社保有のアラタナ社株式(100万株)の売却

➡ **約USD 18Mを調達(売却益:約15億円)**

2014年7月22日にメリルリンチ日本証券を割当先とした第10回新株予約権を発行

➡ **約13.66億円を調達予定**

第10回新株予約権の目的とその概要

新株予約権行使状況

交付株式数：180,000株、行使額面総額：93,810千円（平成26年7月31日時点）

目的／資金使途

具体的な資金使途	金額(百万円)	支出予定時期
1. 5-HT ₄ 部分作動薬(RQ-10)及びアシッドポンプ拮抗薬(RQ-4)の研究開発費	600	2015年1月以降
2. 5-HT _{2B} 拮抗薬(RQ-00310941)及びモチリン受容体作動薬(RQ-00201894)の初期臨床試験	400	2015年1月以降
3. リード化合物の創出及び開発候補化合物の非臨床試験	366	2015年1月以降

募集の概要

1. 発行期日	平成26年7月22日
2. 発行新株予約権数	2,210個/新株予約権1個当たり6,600円(総額14,586,000円)
3. 潜在株式数	2,210,000株(2014年7月1日現在で総議決権数に対する最大希薄化率は16.3%)
4. 行使価額	当初行使価額 621円、上限行使価額はなし、下限行使価額は435円 【＝発行決議日前日の終値x[70%]】
5. 資金調達の内額	1,366,996,000円(差引手取概算額)
6. 募集又は割当方法、割当先	第三者割当ての方法による メリルリンチ日本証券株式会社
7. 本新株予約権の行使可能期間	平成26年7月23日-平成27年7月22日(1年)
8. その他	コミットメント条項付き第三者割当て契約を締結

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。



知的財産の強化（2013年～2014年6月）

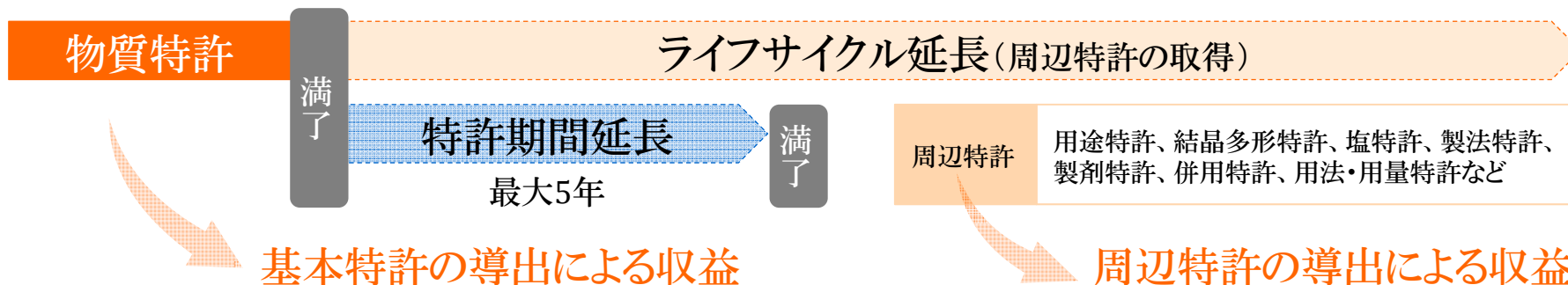
2013

- 2月22日 EP₄拮抗薬の欧州における特許査定
- 3月25日 アシッドポンプ拮抗薬の米国における特許査定
- 7月24日 EP₄拮抗薬の中国における特許査定
- 10月10日 アシッドポンプ拮抗薬の米国における特許査定

2014

- 1月7日 モチリン受容体作動薬の米国における特許査定
- 2月6日 5-HT₄受容体部分作動薬の米国における特許査定
- 5月12日 モチリン受容体作動薬の中国における特許査定
- 5月28日 選択的ナトリウムチャンネル遮断薬の日本における特許査定

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



2014年1月現在



特定のIPを譲渡

対価として、一定割合の
将来的な収益の享受



株式会社AskAt の会社概要

住所	愛知県知多郡武豊町字5号地2番地
代表者	代表取締役 小泉 信一
事業内容	医薬品及び健康関連商品の研究開発、販売、使用許諾、コンサルティングと付帯関連する一切の業務
従業員数	4名
資本金	1百万円
設立日	平成25年1月7日
事業モデル	外部リソース(公的資金、ファイナンス等)を活用し、プログラムの開発を加速、プログラムの価値を上げ、将来的な収益を獲得



株式会社AskAt の会社概要

- 導出候補プログラムとステージ



2014年6月現在



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。

将来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

TEL:052-446-6100

(音声ガイダンス:「#1」株式に関するお問い合わせを選択)

E-mail:当社HPからお願いいたします。

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

ラクオリア創薬株式会社

Copyright RaQualia Pharma Inc. All Rights Reserved. 2014

参考資料



① “創薬力”の強化と継続的な開発候補品の創出

② 探索段階からの共同研究の推進

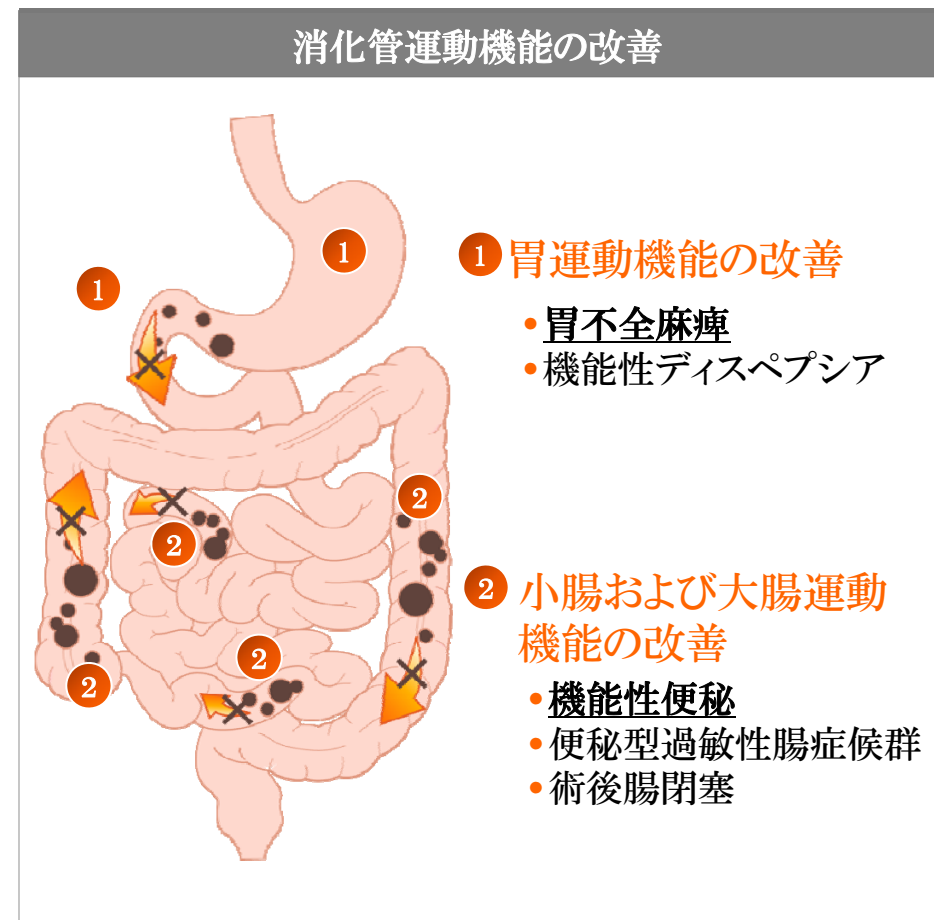
③ 開発プログラムの価値向上による早期収益化

④ アライアンス・マネジメントによる長期的安定収益の獲得

事業の進捗状況(5-HT₄部分作動薬RQ-10) 英国で第 I 相臨床試験終了、POC試験検討中



- 消化管運動機能に重要な役割を果たし、市場実績があるセロトニン受容体の一つ(5-HT₄)が標的である
- 日本市場で年間212億円(2011年度)の売上げを持つ5-HT₄作動薬・モサプリドより強い薬効と高い安全性が期待されている
- 英国で健康成人(88例組み入れ)による第 I 相臨床試験を終了。高い安全性および忍容性を確認、バイオマーカーとして胃排出能への影響を検討、非常に低い用量(3μg/body)で明確に胃排出能を促進させることを確認
- 当該化合物は、①胃運動機能の改善(胃不全麻痺、機能性ディスぺプシア)と②小腸及び大腸運動機能の改善(機能性便秘)に関連し、有望な可能性がある治療薬として現在、第 II 相臨床試験の実施を検討中





事業の進捗状況(アシッドポンプ拮抗薬 RQ-4) 提携先である韓国CJ社で第II相臨床試験を実施

アシッドポンプ拮抗薬 (RQ-00000004)

速やかに、持続的に、優れた胃酸分泌抑制

研究・開発

- アシッドポンプ/プロトンポンプは胃酸の分泌に重要な役割を果たしています。
- RQ-4は既存のプロトンポンプ阻害薬(PPI)より優れた有効性を示す次世代の胃酸分泌阻害薬として期待され、①速やか、②持続的、③空腹時服用での効果、④夜間の効果でPPIとは全く異なる特徴/差別化点を臨床試験で証明しており、より有用な治療法となる可能性を持っています。
- 米国・韓国での臨床試験において、安全性、忍容性、薬物動態とともに本剤の優れた胃酸分泌抑制効果を確認しています。
- 胃食道逆流症患者を対象とした第II相臨床試験が韓国のCJ社で順調に実施されております。

想定される市場規模

- 2009年競合既存薬の世界的市場規模が約2兆円で、国内PPI市場は成長中であります。
- PPIに代わる薬として、胃食道逆流症を含む全てのPPI適応症のマーケットシェアを取ることが期待されます。
- 競合品としては、第III相臨床試験ステージのVonoprazan (TAK-438、武田薬品)があります。



事業の進捗状況

5-HT_{2B}拮抗薬(RQ-00310941)/モチリン受容体作動薬(RQ-00201894)

主なトピックス | 2つの開発化合物の前臨床開発が順調に進展

● 5-HT_{2B}拮抗薬 (RQ-00310941) 前臨床開発実施中

5-HT_{2B}受容体は消化管の運動や知覚に関与しています。高い活性と選択性を持つ5-HT_{2B}拮抗薬である本化合物は、機能性消化管障害の中でも注目度の高い過敏性腸症候群 (IBS) の有効な治療薬として期待されます。

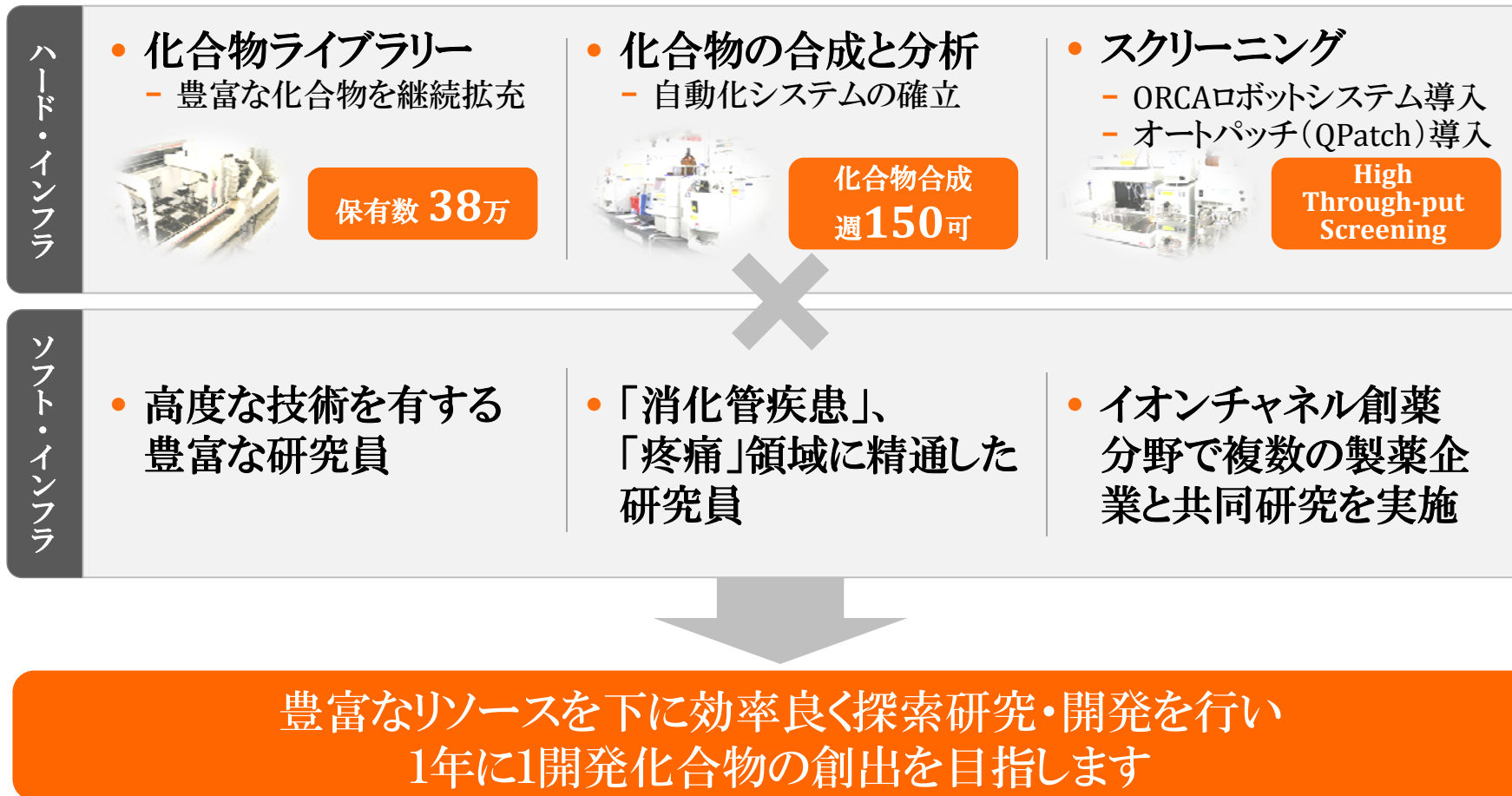
前事業年度において、予定していた全ての薬物動態試験および毒性試験ならびに安全性薬理試験 (いずれもGLP基準) を実施しました。平成26年度においては、前事業年度から着手していた薬効薬理試験を完了し、さらなるステージアップに向けて進んで参ります。

● モチリン受容体作動薬 (RQ-00201894) 前臨床開発実施中

消化管ホルモンであるモチリンは、消化管機能の恒常性維持に重要な役割を担っています。高い活性と選択性を持つ本化合物は、胃不全麻痺、術後イレウス、機能性ディスぺプシア等の未充足の医療ニーズに応える新薬となることが期待されます。

前事業年度に着手した4週間反復経口投与毒性試験 (GLP基準) は、現在、評価結果の精査段階にあります。その他、薬物動態試験および薬効薬理試験についても、各種評価が進行中です。平成26年度においても、これらの前臨床試験を継続実施し、さらなるステージアップに向けて進んでまいります。

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





イオンチャネル創薬(当社の実績)

複数の製薬企業と共同研究契約を締結

会社名	締結日	内容
味の素製薬株式会社	平成24年10月	消化器領域における特定のイオンチャネルを標的とした共同研究
旭化成ファーマ株式会社	平成25年11月	特定のイオンチャネルを標的とした共同研究

探索研究段階における共同研究

当社のイオンチャネルに関するハイスループットスクリーニング技術および創薬研究全般に関する独自の技術ノウハウと提携先の創薬研究開発におけるノウハウとを合わせた新薬創出に向けての共同の取り組み



契約一時金、開発・承認・販売に応じたマイルストーン収益と
販売後のロイヤリティー

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。

中期経営計画の基本方針

- 蓋然性の高い事業計画の作成と実行・達成と企業価値の向上
- 安定収益獲得に向けての具体的な方針/施策の提示

中期経営計画の骨子

- 研究開発ポートフォリオの強化と充実
 - 産学連携による創薬研究の加速
 - 外部機関等との共同研究による新規開発化合物の創出
 - 自社評価系による継続的な新規開発化合物の創出
- 研究開発成果の収益化の向上
 - アライアンス・マネジメント強化による中長期で見込まれるマイルストーン収入、ロイヤリティー収入の獲得
 - プログラム価値向上によるプログラム導出促進と収益の獲得
 - 産学連携による研究成果の収益化

中期経営計画の骨子

- 経営資源の集中による事業費用の圧縮
 - 当社保有コアプログラムの自己資金/外部プロジェクト・ファイナンスを活用した開発ステージのアップ
 - 段階的な研究開発拠点の移転による固定費（施設関連費用）の圧縮
 - 継続的な固定費の見直しと削減努力
- 経営の安定と事業継続性
 - 安定収入獲得までの所謂「死の谷」を越えうる資金調達の検討と実行
 - 戦略的資本（業務）提携の推進
 - 成果主義による従業員へのインセンティブの検討・実行