



ネクセラファーマ R&D Day

2025年11月18日 | ネクセラファーマ株式会社(コード:4565)



免責事項

本資料は、ネクセラファーマ株式会社およびその子会社(以下、総称して「当社グループ」)に関する本資料作成時の一般的な情報を記載しています。本資料は、情報提供を目的としたものであり、有価証券の投資勧誘や投資アドバイスとして解されるべきものではありません。本資料は、受領者の具体的な投資目的、財務状況、または特定のニーズに合わせて作成されたものではありません。また、第三者による有価証券の評価またはその募集の根拠を提供することを意図しておらず、何らかの有価証券の申込または購入を推奨するための資料ではありません。

本資料の情報は、要約であり全情報ではありません。一部の情報は、公開情報源から入手されています。当社グループは、明示的あるいは黙示的に関わらず、本資料に含まれている情報の正確性、公平性、または完全性に関して一切表明または保証せず、当該情報の正確性、公平性、または完全性に頼るべきではありません。当社グループは、新しい情報および／または将来の出来事に照らし合わせて本資料を更新する責任または責務を負いません。また、当社グループは、改訂または変更を通知する義務を負うことなく、自己の裁量により本資料の内容を任意の方法で改訂、修正、または変更できます。

本資料には、1933年の米国証券法のセクション27A(改定を含む)および1934年の米国証券取引所法のセクション21E(改定を含む)で定義されている「将来予測に関する記述」が含まれています。「信じる」、「期待する」、「予測する」、「意図する」、「計画する」、「目指す」、「見積もる」、「予定である」、「可能性がある」、およびこれらと同様の表現は、将来予測に関する記述であることを示しています。本資料に含まれている過去の事実以外のすべての記述は、将来の経営に関する当社グループの財務状況、事業戦略、経営計画および目標(当社の製品に関わる開発計画および目標を含む)を含め(ただし、それだけに限定されない)、将来予測に関する記述です。当該将来予測に関する記述には、既知および未知のリスク、不確実性、その他の要因が含まれているため、当社グループの実際の結果、業績、または実績は、当該将来予測に関する記述に含まれたり示唆されたりしている将来の結果、業績、または実績と大きく異なる場合があります。当該将来予測に関する記述は、当社グループの現在と将来の事業戦略および将来の事業環境に関する数多くの想定に基づいています。当社グループの実際の結果、業績、または実績と将来予測に関する記述の内容とに大きな違いをもたらしうる重要な要因として、特に製品の創薬と開発に伴うリスク、臨床試験に関わる不確実性、期待よりも遅い被験者の募集、患者に対する当社グループの製品の投与に起因する予期しない安全性の課題、製品の製造に関わる不確実性、当社グループの製品の市場の受け入れ不足、成長を管理する当社グループの能力欠如、当社グループの事業分野および市場に関わる競争環境、適切な資格を有するスタッフを確保・維持する当社グループの能力欠如、当社グループの特許および所有権の法的強制力または保護の欠如、当社グループと関係会社の関係、当社グループの製品を陳腐化させうる技術の変化および発展、その他の要因が挙げられます。これら要因には、東京証券取引所および日本の金融庁へ提出された当社グループの開示済み報告書に記載された要因が含まれますが、それだけに限定されません。当社グループは、将来予測に関する記述に含まれている期待および想定は当社グループの経営陣が現在入手できる情報に適切に基づいていると考えていますが、一部の将来予測に関する記述は、結果として不正確となりうる将来の出来事に関する想定に基づいています。将来予測に関する記述は、本資料の日付の時点のものであり、当社グループは、新しい情報が将来入手できた場合でも、将来予測に関する記述を更新したり改訂したりする義務を負いません。

本資料は、何らかの有価証券の勧誘を構成するものではありません。本資料およびその内容は、いかなる契約または確約の根拠となりません。本資料の受領者は、本要約の内容を法律、税金、または投資のアドバイスと解釈してはならず、それに関しては自己のアドバイザーへ相談すべきです。

本資料およびその内容は機密情報であり、当社グループの書面による事前同意を得ることなく、全部または一部を複製、公開、その他の形で配布してはなりません。当該資料は、いずれかの司法管轄区または国の個人または組織に対して現地の法律または規制に違反して配布される、またはそれにより使用されることを意図していません。

本資料には、非GAAP財務データが含まれています。本資料に含まれている非GAAP財務データは、IFRSに従って計算された財務実績のデータではなく、IFRSに従って決定される利益または営業利益の差し替えまたは代用、業績の指標、または営業活動により生み出されるキャッシュフローの差し替えまたは代用、または流動性の基準として捉えるべきではありません。非GAAP財務データは、IFRSに従って報告された当企業の実績の分析の代用としてではなく、それに追加して扱うべきです。

「ネクセラ」および当社グループのロゴは、当社グループの商標もしくは登録商標です。



目次

- 01 ビジネスアップデート**
- 02 日本/APACでの開発販売事業**
- 03 研究開発の進捗**
- 04 連結業績**
- 05 補足資料**

↖

ビジネスアップデート

CEO クリストファー・カーギル

01

新CSOにパトリック・フォルシュ博士が就任



パトリック・フォルシュ博士

- 免疫疾患、腫瘍、神経科学などの分野での研究開発で実績

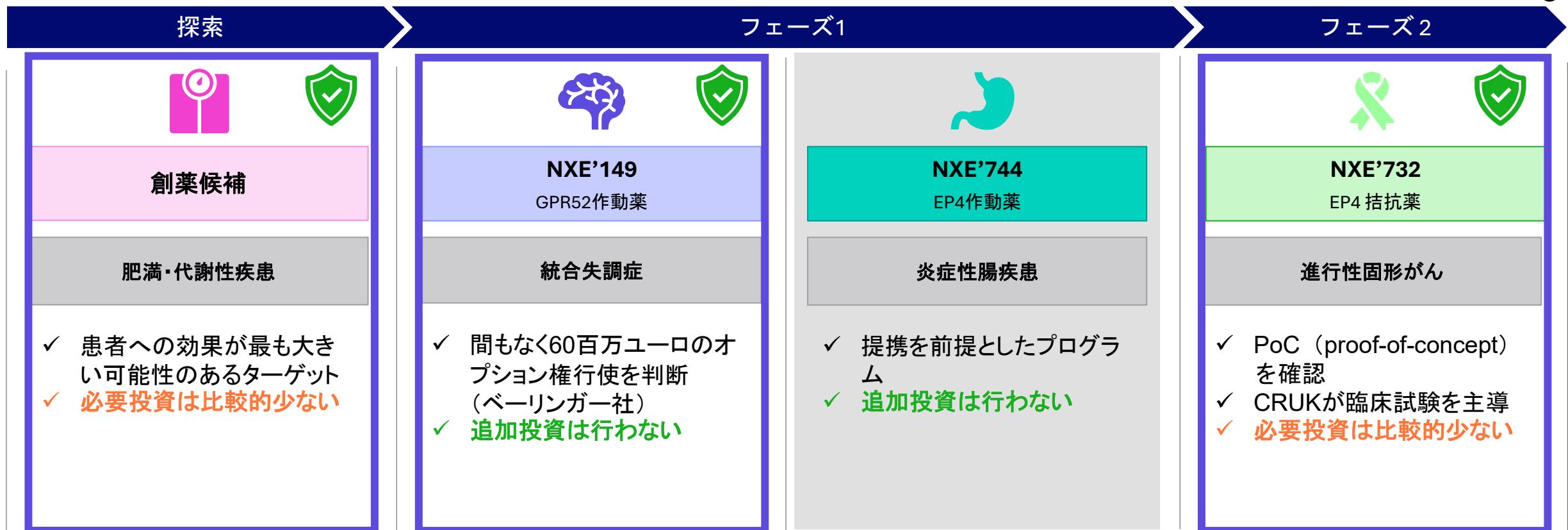


- ポートフォリオ意思決定の高度化、プログラム推進の加速、R&D全体の投資収益率の向上に注力
- VCが出資するバイオテック企業を率いた実績に加え、AI / 機械学習に立脚した創薬プラットフォーム構築の専門知識

20年以上の経験を活かし当社の研究開発の焦点を明確化し「NxWave™」の潜在力を最大限に引き出す

収益性向上のための再編成

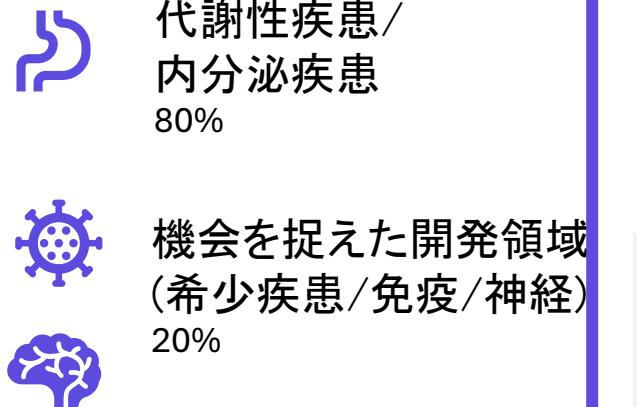
自社ポートフォリオ一研究開発の重点化とプログラムの優先順位付け



リスク低減された標的を優先し、優れた製品プロファイルで優位に立てる領域に注力
再編成により、FY2026の研究開発費はFY2025比で2,000万米ドル超の削減

2030年ビジョンは不变 – 高成長で高収益な日本のバイオ製薬企業を築く

ベストインクラスかつ
最も潜在性の高い機
会に戦略的重點

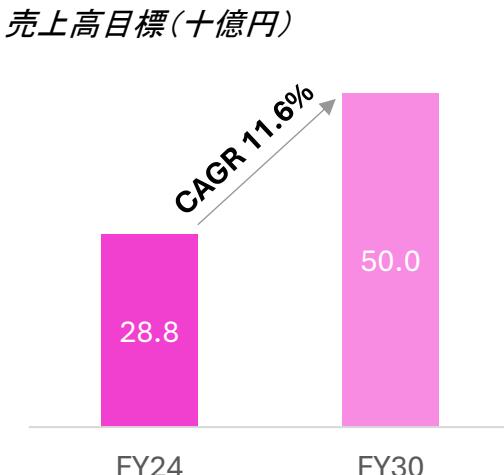


5つ以上の製品* を
日本で発売

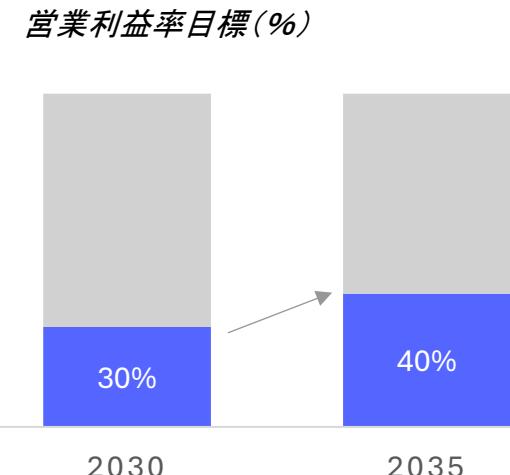


事業開発活動により積極
的に新製品の機会を模索

500億円以上の
年間売上高



営業利益率30%以上



日本発—日本のために、そして世界へ医薬品の発見と開発を加速する

* ピヴラツツ®とクービビック®を含む



収益性向上のための再編成

R&Dの重点化／優先順位付け

- 優先度の低いプログラムは提携または終了候補として選定
- 資金・リソースを最も収益性の高い領域へ再配分—ベストインクラスのGPCRに注力し、プログラムの80%を肥満症、代謝性および内分泌疾患領域に集中
- 新任CSOのパトリック・フォルシュ博士が、規律とスピード感をもって研究開発の重点化を主導

オペレーションの強化

- 経営チームを(10名)から(7名)へ縮小
- 上級研究開発リーダー層も同様に人員を削減
- 日本および英国拠点において全体で約15%の人員削減を計画し、研究開発の優先度と経営資源を整合
- 管理層の簡素化により意思決定を迅速化

コスト基盤の再構築

- 309億円の現金・流動資産により戦略遂行の柔軟性を確保
- 2025年に一時的な構造改革費用として5億円を計上
- 2026年度以降のコスト削減を実現し、2026年は少なくとも10億円を削減
- 英国の創薬・開発拠点において、2026年度の現金R&D支出を約35億円削減

規律とスピードある運営のため徹底した業務プロセスの簡素化を図る



強固な基盤、研究開発・臨床のモメンタムおよび日本でのコマーシャル事業の成長

会社全体の重要な進捗

- ✓ 新IRヘッドの就任により情報提供活動の強化
- ✓ 経営陣およびリーダーシップチームの効率化
- ✓ パトリック・フォルシュ博士の新CSO就任によるR&Dの焦点の一層の明確化

研究開発・臨床

- ✓ 肥満症・代謝性疾患を標的とした自社開発パイプラインを立ち上げ、R&Dの重点化とプログラムの優先順位付けを実施
- ✓ 臨床試験アップデート:
Direclidine/(NBI'568) Ph3(統合失調症)/Ph2(双極性障害); ORX750 Ph2a(NT1/NT2/IH); NXE'732 Ph2a(固体がん); NXE'149 Ph1b(統合失調症)
- ✓ ORX750(OX2作動薬)の Ph2aの良好なデータ – 2026年Q1にもRegistrational program開始予定

日本コマーシャル事業

- ✓ ピヴラツツ®は動脈瘤性くも膜下出血(aSAH)の主要治療薬として成長継続
- ✓ ダリドレキサントの台湾における新規提携(26年半ば発売予定)
- ✓ Cenerimodの日本・APAC権利のヴィアトリス社への譲渡
- ✓ クービビック®の第二原薬製造所追加

リーダーシップ、サイエンスの強化および主要市場における成長の促進

~

日本/APAC事業

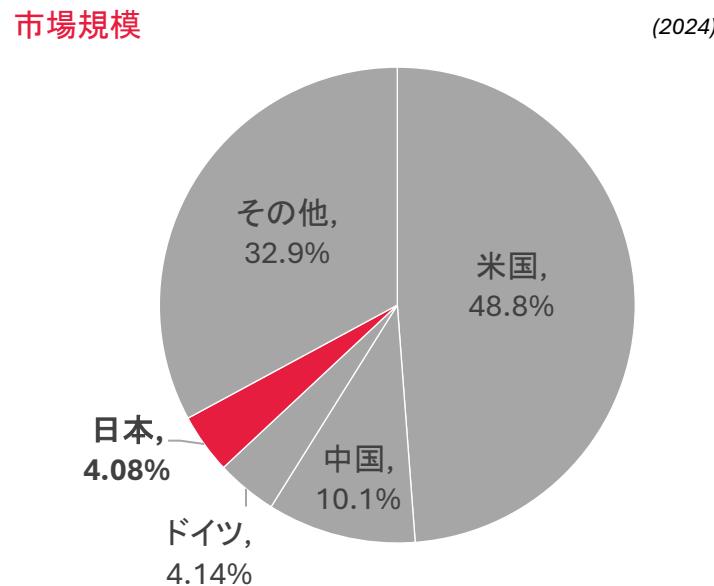
COO兼ネクセラファーマジャパン社長 前田敏宏

02

日本はAPAC市場展開の拠点となる

日本は取引量が多く、魅力的で確立された市場

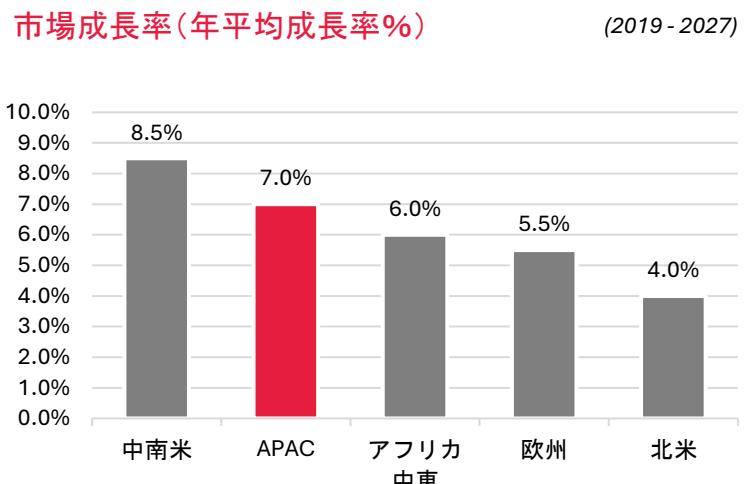
日本は世界で3番目に 大きい市場規模(中国を除く)



有利な日本市場環境

- ✓ 国民皆保険制度
- ✓ 迅速な償還
(規制当局の承認後90日以内)
- ✓ 日本の患者におけるドラッグロース・ドラッグラグ低減に向けた政府施策

APACは世界で2番目に 成長率の高い製薬市場



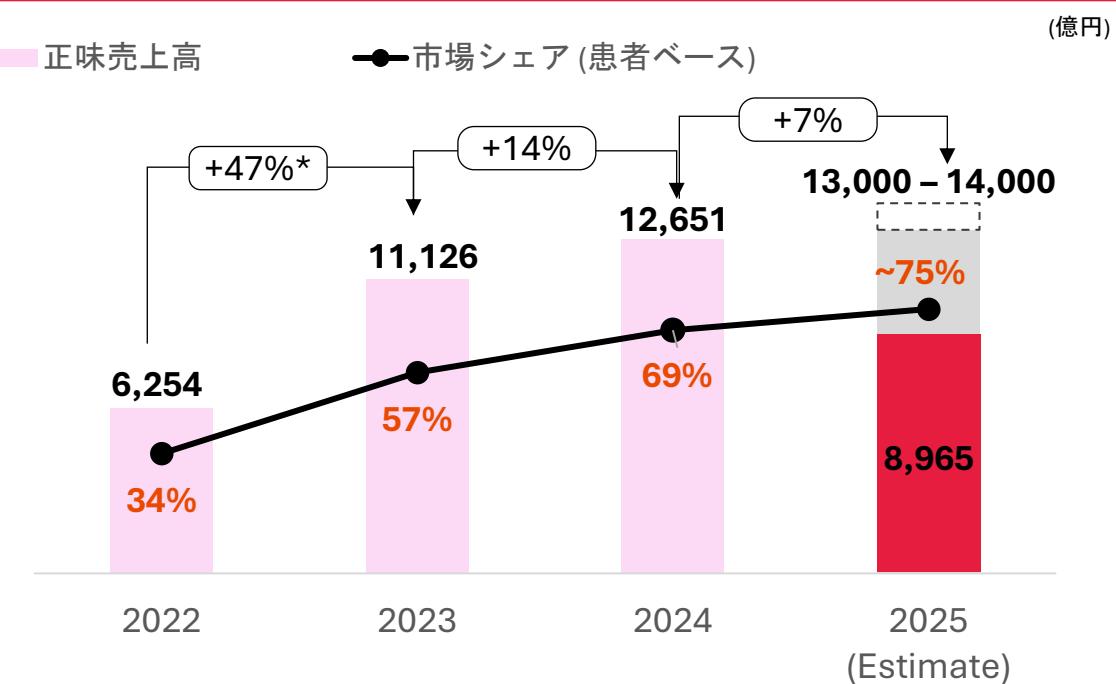
出所: IQVIA Market Prognosis, Sep 2022; IQVIA Institute, Nov 2022.

APAC(中国を除く)には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む

ピヴラツツ[®](クラゾセンタン、エンドセリンA受容体拮抗薬)
動脈瘤性くも膜下出血(aSAH)患者における脳血管攣縮の予防を目的とした
当社初の上市製品



ピヴラツツ[®]の売上成長率



2025年ピヴラツツ[®]のハイライト

- ✓ 発売開始から2025年9月までにPIVLAZ[®]で治療を受けた患者は 23,000人
- ✓ 市場シェアは73%に到達 (2025年8月時点の平均値)
- ✓ STROKE 2025 年次総会で103件の抄録を発表
- ✓ 学会が「クラゾセンタン投与法の実践的手引き」を策定、2026年2月に刊行予定

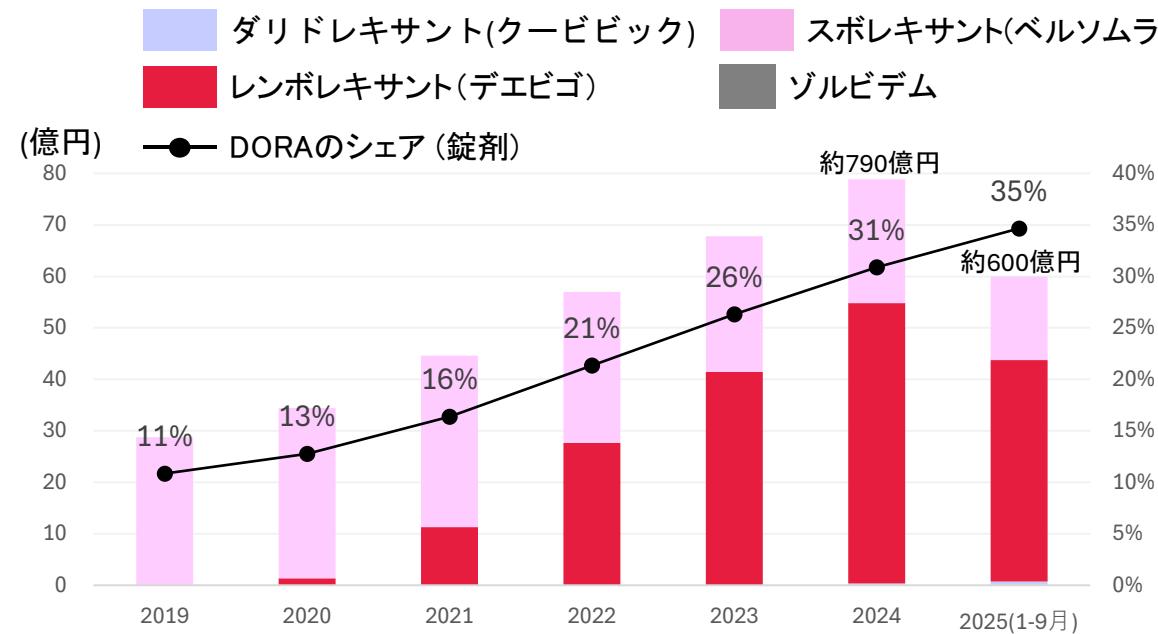
ピヴラツツ[®]は現在、日本で標準治療 (SoC) として確立

クービビック®*: 新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬(DORA)

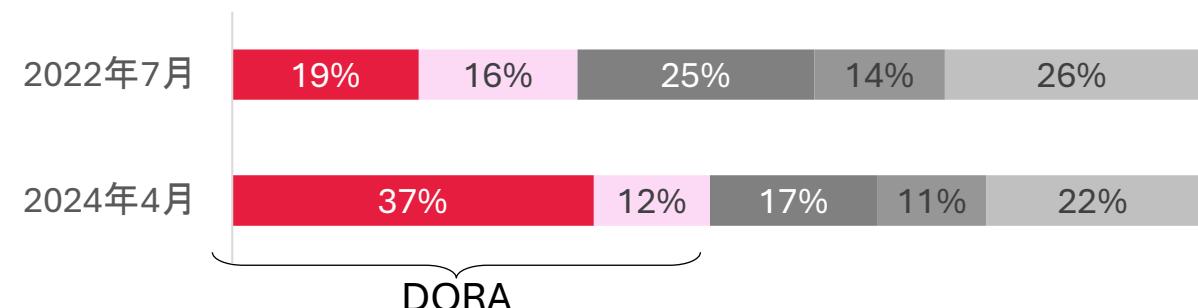
DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している



薬価ベース売上 および市場シェア



処方頻度 (最も処方頻度の 高い睡眠薬)



出所: 日経メディカル(2022/7/23, 2024/4/13)

クービビック®の売上・利益構造のイメージ

利益は当面はロイヤリティ収入によるが、将来は原価低減効果による利益増大が寄与

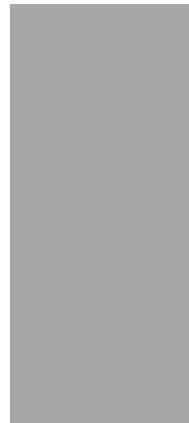


売上構造

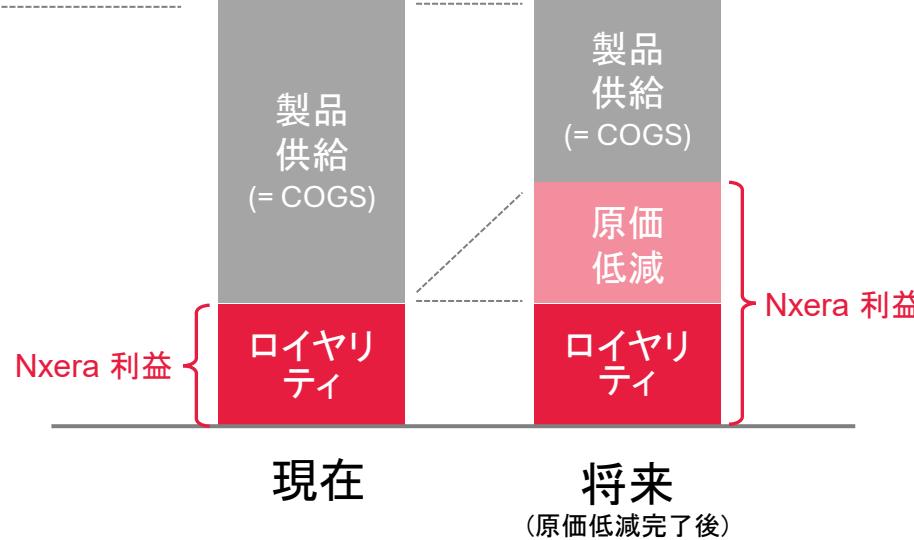
製品売上高



ロイヤリティ +
製品供給
売上高



当社の利益構造



サプライチェーン最適化

サプライチェーン全体最適化に向けた包括的戦略

これまでの実績

- ✓ ライセンス元から独立した Nxera のサプライチェーンを確立
- ✓ 10月に第2の原薬供給源に関する規制当局の承認を取得

今後の計画

- ✓ 原材料のさらなるコスト最適化を実現
- ✓ 製剤化および包装の最適化



ピヴラツツ®およびクービビック®の2025年の売上ガイダンス

ピヴラツツ®は正味売上高で130～140億円、クービビック®はロイヤリティと製品供給で40～50億円を目指す



2025年の
売上目標

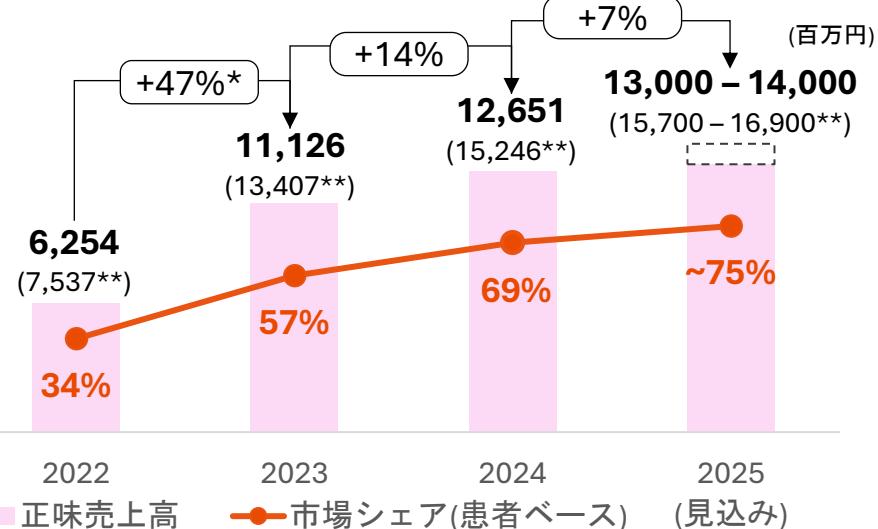


13.0 – 14.0 Bn JPY

(薬価ベース: 157～169億円)

+7%

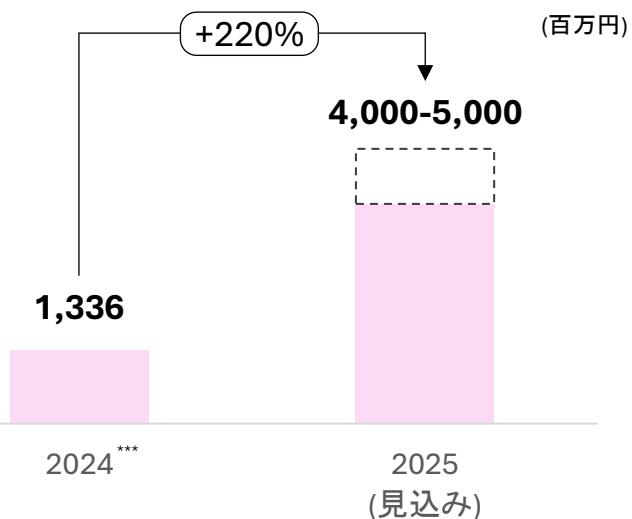
売上推移



4.0 – 5.0 Bn JPY

(塩野義の26/3期予想25億円)

+220%



出所: MDV DPC hospital data

* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、**薬価ベースの売上 ***2024年は契約一時金・マイルストン・ロイヤリティ・製品供給による売上、2025年はロイヤリティと製品供給による売上

~

研究開発の進捗

パトリック・フルシュ
チーフ・サイエンティフィック・オフィサー (CSO) 兼
Nxera Pharma UK社長

03



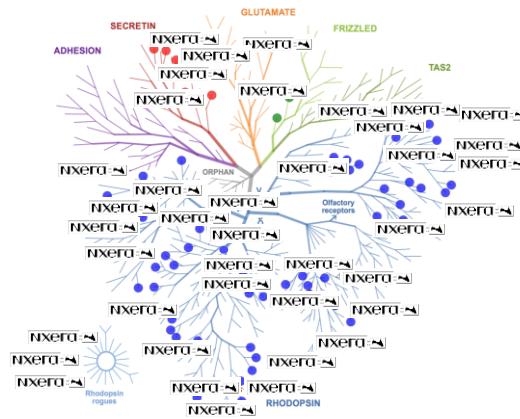
次世代GPCR創薬の創出

ベストインクラスかつ最も潜在性の高い機会へ戦略的に重点化

世界をリードする専門性

GPCR創薬における比類なき知見の深さ

**60以上の受容体から500以上の分子構造を
解明**



- 独自開発の「NxWave™」構造ベース創薬プラットフォーム
- 豊富なデータと知見がAIソリューションを活用するための独自基盤を創る

ベストインクラス 創薬ポートフォリオ

重点化、データドリブン、提携体制

NXera ↗

- GPCRに特化
- 安全性・有効性のシグナルを早期に把握
- 優れた製品プロファイルで競争に勝つ
- 臨床的・商業的ポテンシャルは明確
- 規律とスピード感をもって実行

EP4 拮抗薬

Amylin 作動薬

GIP 拮抗薬

GLP-1 作動薬

確立した実績

世界最高水準の包括的GPCRパイプライン

24

臨床入りした
化合物¹

~800億円

これまでに受領し
た金額²

~4,000億円

将来受領の可
能性がある金額³

サイエンスが最も強く、事業機会が最も大きい領域にR&Dを集中



Platform

自社ポートフォリオー研究開発の重点化とプログラムの優先順位付け

探索



創薬候補

肥満・代謝性疾患

- ✓ 患者への効果が最も大きい可能性のあるターゲット
- ✓ 必要投資は比較的少ない

フェーズ1

NXE'149
GPR52作動薬

統合失調症

- ✓ 間もなく60百万ユーロのオプション権行使を判断(ベーリンガー社)
- ✓ 追加投資は行わない

NXE'744
EP4作動薬

炎症性腸疾患

- ✓ 提携を前提としたプログラム
- ✓ 追加投資は行わない

フェーズ2

NXE'732
EP4拮抗薬

進行性固形がん

- ✓ PoC (proof-of-concept)を確認
- ✓ CRUKが臨床試験を主導
- ✓ 必要投資は比較的少ない

R&Dは最もポテンシャルの高い領域に注力

EP4受容体拮抗薬NXE'732 – 進行性固形がん

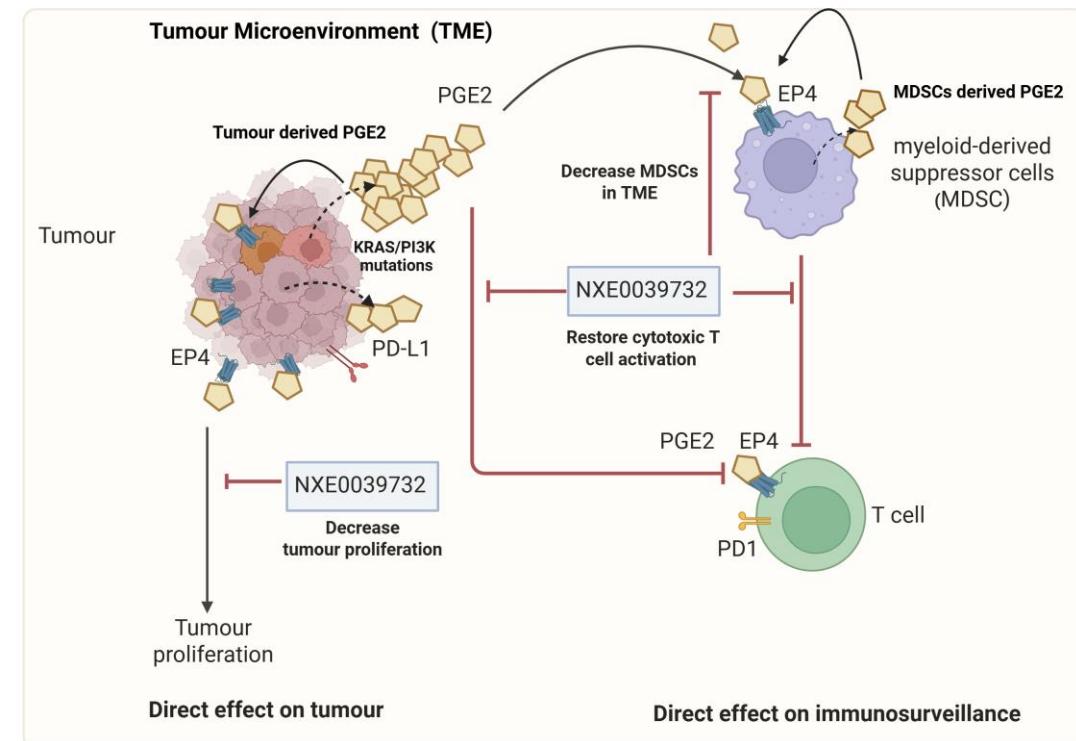
アテゾリズマブ併用のフェーズ2a拡大パートが進行中

疾患メカニズムとの関連

- プロスタグランジンE2(PGE2)は多くの腫瘍で上昇しており、EP4受容体を介してシグナル伝達し、抗腫瘍免疫を抑制^{1,2}
- KRAS および PI3K 変異は、PGE2 増強することで、CPIに対する耐性を高めることが期待される^{4,5,6}
- CPIの奏効率は20%未満とされており、大きなアンメットニーズが存在³
- EP4阻害で、PGE2高値腫瘍におけるCPI効果を増強
- EP4拮抗は有望—胃がんでの ONO-4578 最新臨床データが裏付け

1. Take et al., Front Immunol 2020; 2. Amodia et al., Cancers, 2021; 3. Mariniello et al. Biodrugs 2025; 4. Shi et al. Molecular Cancer 2025, 5. Boumehtha et al. Cancer research 2024; 6 Hsu et al. Int. J. Mol Sci. 2017

EP4 拮抗薬のメカニズム

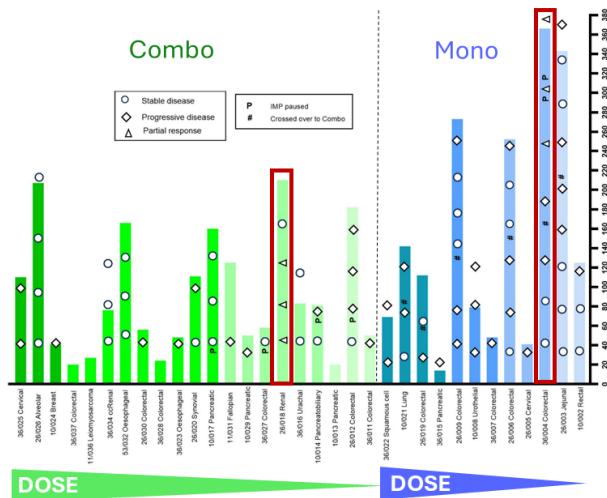
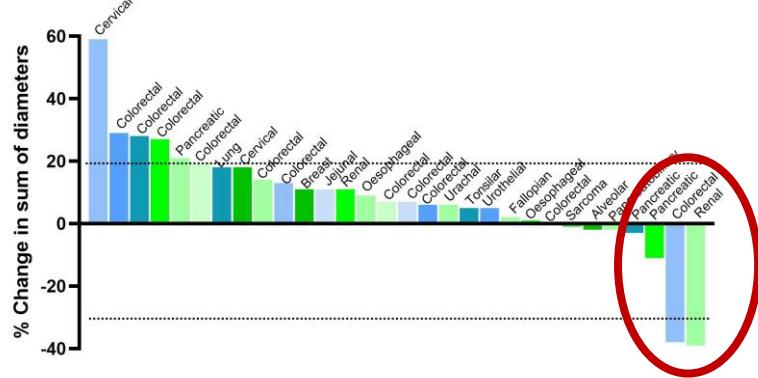


主要な免疫抑制性経路を標的化させNXE'732は抵抗性腫瘍を”ホット”な腫瘍にし、より多くの患者様に治療効果をもたらすことを目指す

ベストインクラスの可能性を秘めたNXE'732の臨床データ

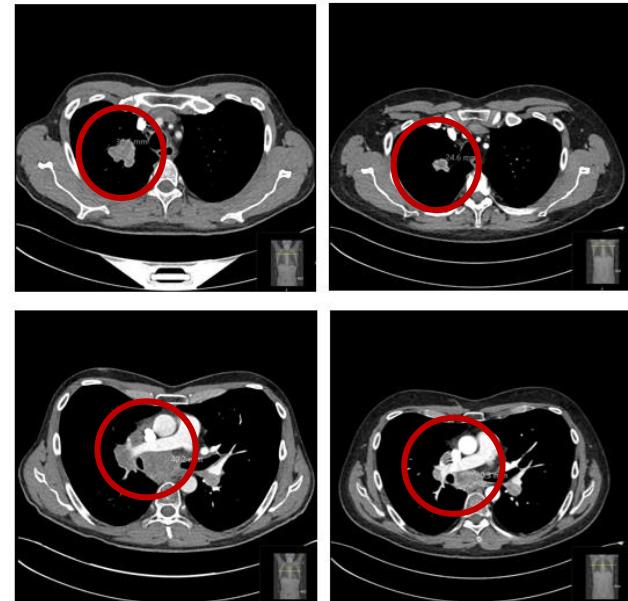
全体的な治療効果

MSS結腸直腸がん(MSS CRC)と抗PD-L1抵抗性の透明細胞型腎細胞がん(ccRCC)で、部分奏効(PR)を2例観察



部分的な治療効果

3か月後、腫瘍径がベースラインから縮小



ベースライン

3か月

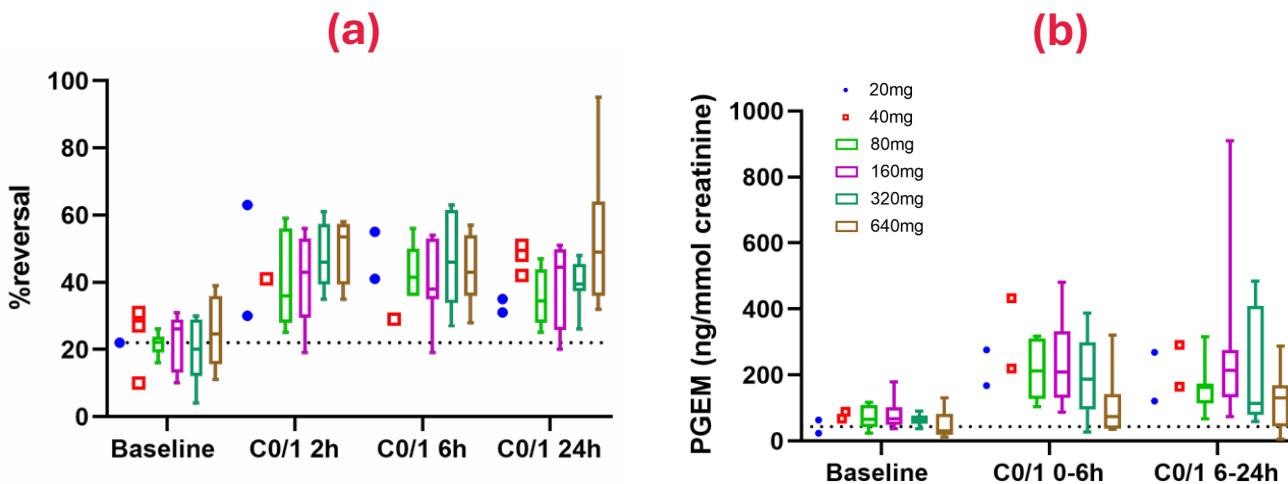
3ヶ月時点で有意な腫瘍縮小を確認

全用量で明確な標的結合を確認、狙いとする免疫機序が作動

標的結合/ターゲットエンゲージメント

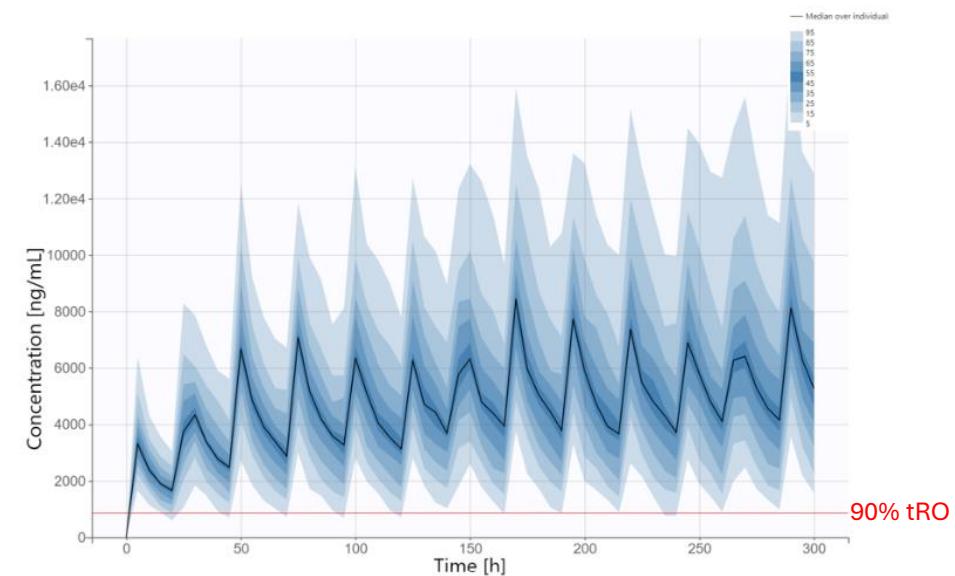
すべての投与量で標的結合を確認

- a) 患者全血中において、PGE2によるLPS刺激性TNF- α 抑制の回復 (=どれだけ戻るか)として測定(※本来PGE2は免疫反応を抑制する)
- b) 測定時点におけるPGE2代謝物/クレアチニン比



P2推奨用量

- 160 mg/日の投与量では、EP2受容体を有意に活性化することなく90%以上の受容体占有率を達成
- 部分奏効を示した2例はいずれも160 mg/日を投与
- 選択された投与量は安全性によって制限されなかった



安全性良好、標的結合確認、用量制限毒性 (DLT) なし。フェーズ2a試験が4がん種で進行中：
MSS大腸がん (PIK3CA、HER2± ほか)、胃/食道胃接合部 (GOJ) 腺がん、腎 (ccRCC)、前立腺 (CRPC)



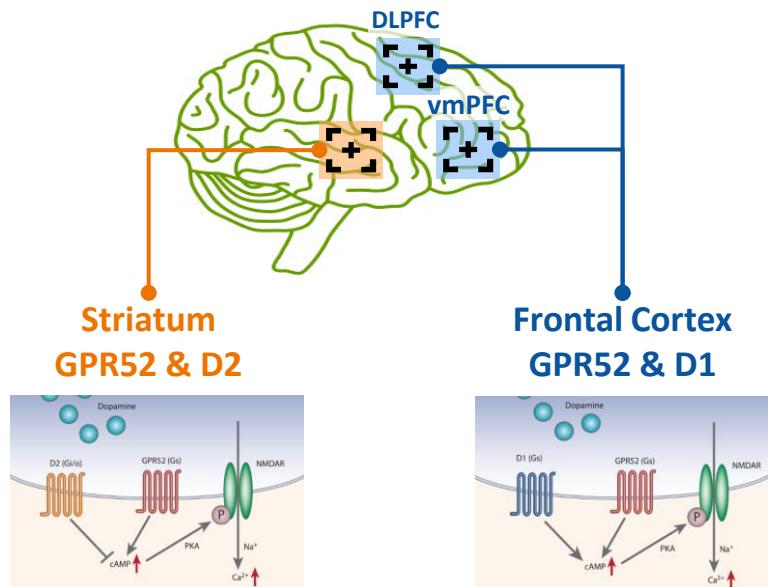
Platform

GPR52 受容体作動薬NXE'149- 統合失調症

統合失調症の陽性症状、陰性症状、認知機能障害の改善が期待されるファーストインクラスのメカニズム

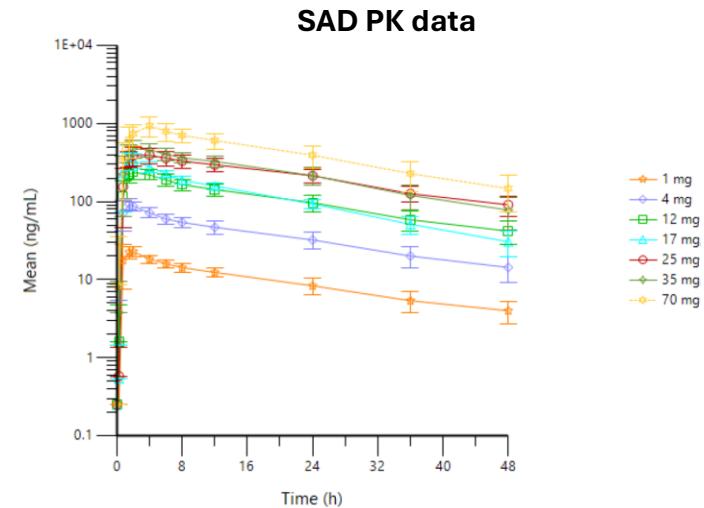
疾患メカニズムとの関連

- GPR52は線条体のD2ドパミンニューロンに発現。活性化によりD2アゴニスト様作用をもたらし、幻覚などの陽性症状を改善する可能性
- GPR52は前頭葉のD1ドパミン受容体と共に局在。活性化によりD1アゴニスト様作用が発現し、注意力などの認知機能を改善する可能性



進捗と今後の見込み

- **P1a試験は完了**
 - 薬力学(PD)評価
 - 薬物動態(PK)試験データは良好で、前臨床試験データと整合
 - 1日1回投与を支持



- **P1b試験は2025年4Qに完了予定**

NXE'149はフェーズ1試験が完了間近、オプション契約締結先であるベーリンガーインゲルハイムとの関係において重要な転換点を迎えるつある

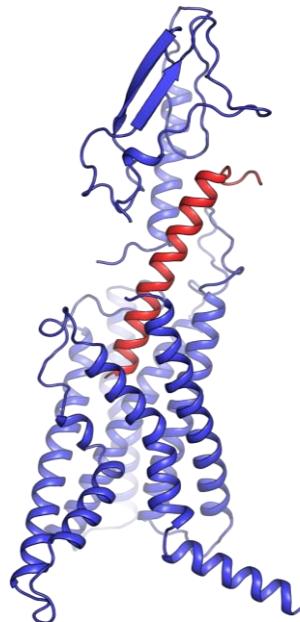


Platform

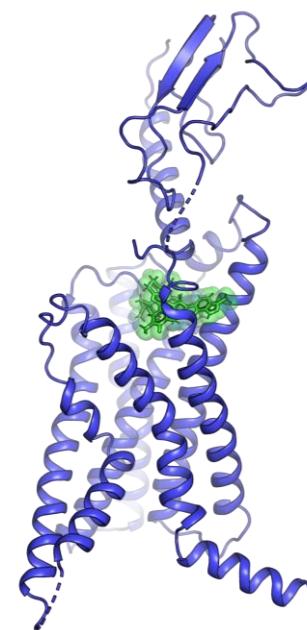
肥満・代謝性疾患・内分泌疾患に対する次世代治療法に注力

GPCRの強みを武器に、アンメット・メディカル・ニーズが最も高い領域で低分子プログラム開発を進捗

他の追随を許さないGPCR構造ベース創薬力



ペプチドと結合した
GLP1受容体の構造



低分子と結合した
GLP1受容体の構造

- 肥満および代謝性疾患に対するベストインクラスとなり得る次世代治療法の開発を戦略的に推進する広範な新規パイプラインを立ち上げ
- ペプチド医薬品が主流の市場において、利便性、容易な用量設定および経口薬による継続的な体重管理
- 肥満の重大な合併症を標的：心血管疾患、腎疾患、肝疾患への治療効果
- 副作用軽減と治療が困難な患者への拡大

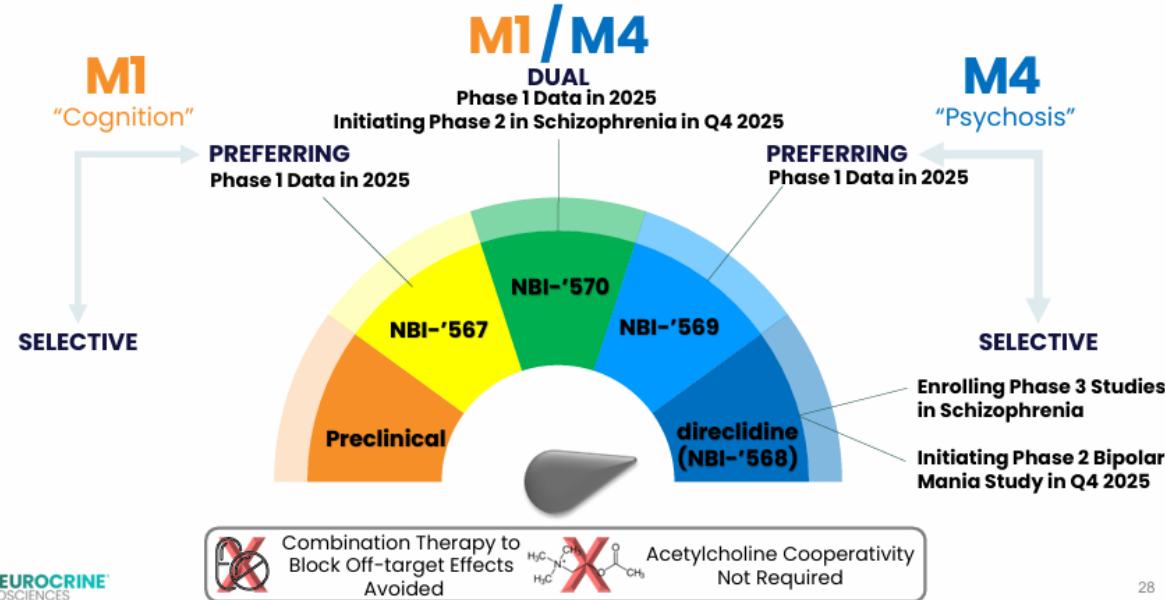
メカニズム	Nxera
GLP-1 ag	✓
GIP ant	✓
Amylin ag	✓
その他	✓

「NxWave™」プラットフォームにより差別化された低分子医薬品を提供できる独自のポジション

ニューロクライン社は広範なムスカリン作動薬ポートフォリオを開発中 5つの臨床段階のプログラムが実施中



Muscarinic Platform Includes Multiple Clinical Programs From M1 to M4 Selective Orthosteric Agonists



NEUROCRINE
BIOSCIENCES

製品名/ 開発コード	ターゲット	適応症	Phase1	Phase2	Phase3
Direclidine (NBI'568)	M4 作動薬	統合失調症			
Direclidine (NBI'568)	M4 作動薬	双極性障害		Ph2 試験開始 Q4 2025	
NBI'570	M1/4 作動薬	統合失調症		Ph2 試験開始 Q4 2025	
NBI'569	M4 作動薬	-			
NBI'567	M1 作動薬	-			

28

M1、M4、M1/M4という複数メカニズムに亘る臨床段階プログラムが5つ
NxWave™で設計された選択的オルソステリック作動薬で、複数のアプローチにより認知症状および精神症状を治療へ



OX2受容体作動薬ORX750 – NT1/NT2/IH

初期P2a データにより3つの適応症でベストインクラスとなり得るプロファイルを確認



NT1/NT2/IHでベストインクラスの可能性

ORX750

CRYSTAL-1 Phase 2a study in NT1, NT2 and IH



Evaluate safety, tolerability, and PK in NT1, NT2, and IH patients

Efficacy assessment registrational endpoints:
Maintenance of Wakefulness Test (MWT),
Epworth Sleepiness Scale (ESS), weekly
cataplexy rate (NT1 patients only), and overall
symptom improvement*

Exploratory efficacy assessments will measure
sleep, **cognition, attention, memory**, and
general health

First robust demonstration of oral OX2R
agonist addressing wakefulness needs of
patients across NT1, NT2 and IH...

- Generally favorable safety and tolerability profile
- Statistically significant, clinically meaningful and dose-dependent efficacy
- Dose escalation across ongoing and future cohorts with **once-daily and split-dose regimens**, enabled by Phase 1 data

...Expect to initiate registration program in Q1 2026

P2a試験のアップデート

Endpoints

覚醒維持検査(MWT)
>20 min change at 1.5mg vs baseline (with half of participants)
>30 min). NT1
>10 min change at 4mg vs baseline. NT2

エプワース眠気尺度
(ESS)
1.5mg = 5.1 vs 18.7 (placebo). NT1
4mg = 8.1 vs 15.9 (placebo). NT2

過当たりの
カタプレキシー
発作頻度(WCR)
87% relative reduction at 1.5mg vs placebo. NT1

参加者
55 participants (NT1, NT2 & IH)

次のステップ
Registrational Phase 3 initiation planned for Q1 2026

初期フェーズ2a試験データにより、経口オレキシン2受容体(OX2R)作動薬が全3適応にわたり患者の覚醒ニーズに応えることを確認。2026年第1四半期に承認申請を見据えたレジストレーションプログラムを開始予定

↖

連結業績

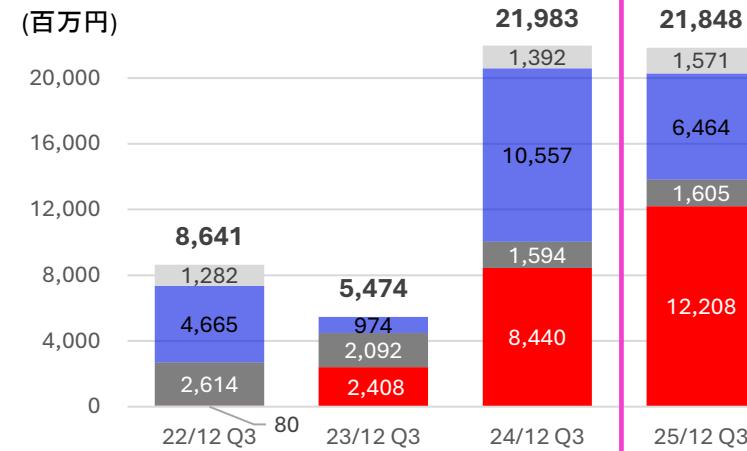
CFO 野村 広之進

04

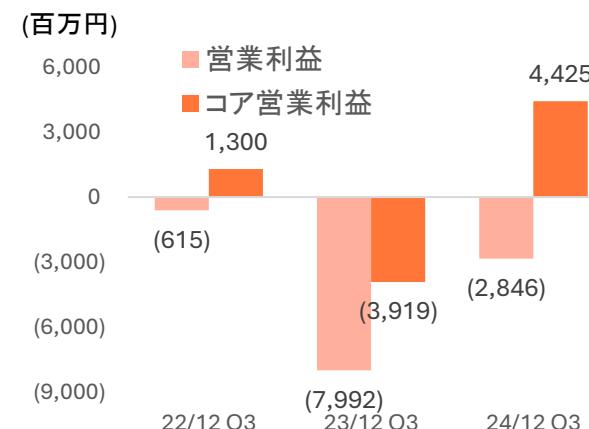
主要決算数値

医薬品販売事業が成長も、マイルストンは前年同期比減少でコア営業利益が赤字

最新の実績



売上高



営業損益

契約一時金¹

- ヴィアトリス社へのCenerimodの日本・APAC権利の譲渡10百万米ドル(2月)

マイルストン²

- ニューロクライン社との開発品M4作動薬NBI'568のP3試験開始15百万米ドル(6月)
- センテッサ社との開発品ORX142のP1試験開始4.8百万米ドル(6月)
- アップヴィ社との創薬提携においてマイルストン達成10百万米ドル(9月)

ロイヤリティ他

- ノバルティス社の呼吸器系ポートフォリオからのロイヤリティは横ばい

医薬品販売

- ピヴラツツ®の販売額(8,965百万円)が前年比7%増加
- クービック®の製剤供給・ロイヤルティの計上開始

研究開発費

- 臨床試験のための研究開発活動への投資増

売上原価

- クービック®の売上原価が追加
- ピヴラツツ®の在庫分に対する売上原価調整額が25/12期1Qからゼロ

販売費及び一般管理費

- NPJ/NPK関連の管理費が減少
- 無形資産の償却費の増加(ピヴラツツ®、クービック®関連)

主な変動要因

¹ 契約開始時に認識された契約一時金

² マイルストン達成時に認識されたマイルストン収入+前受金取崩額

決算のブレークダウン

コマーシャル事業の収益性が大きく改善

		（百万円）		プラットフォーム ^{*1}		コマーシャル ^{*2}		連結損益(コア)		ノンコア費用		連結損益(IFRS)	
		(対前年同期比)		(対前年同期比)		(対前年同期比)		(対前年同期比)		(対前年同期比)		(対前年同期比)	
売上収益	8,162	-40%		13,686	+64%	21,848	-1%	合計：4,921		21,848	-1%		
売上原価	1,656	-12%		4,436	+289%	6,092	+102%	A 償却費 (1,341)		6,146	+12%		
販管費	3,997	+36%		3,794	-24%	7,791	-1%	B その他 (2,332)		11,410	-3%		
研究開発費	8,882	+36%		1,070	+10%	9,952	+32%	B その他 (1,248)		11,200	+32%		
その他収益	1,006	+73		(5)	+34	1,001	+107			1,001	+107		
営業損益	(5,367)	-8,538		4,381	+3,126	コア営業利益(986)	-5,411			営業利益(5,907)	-3,061		

A 主にピヴラツとクービックの無形資産の償却

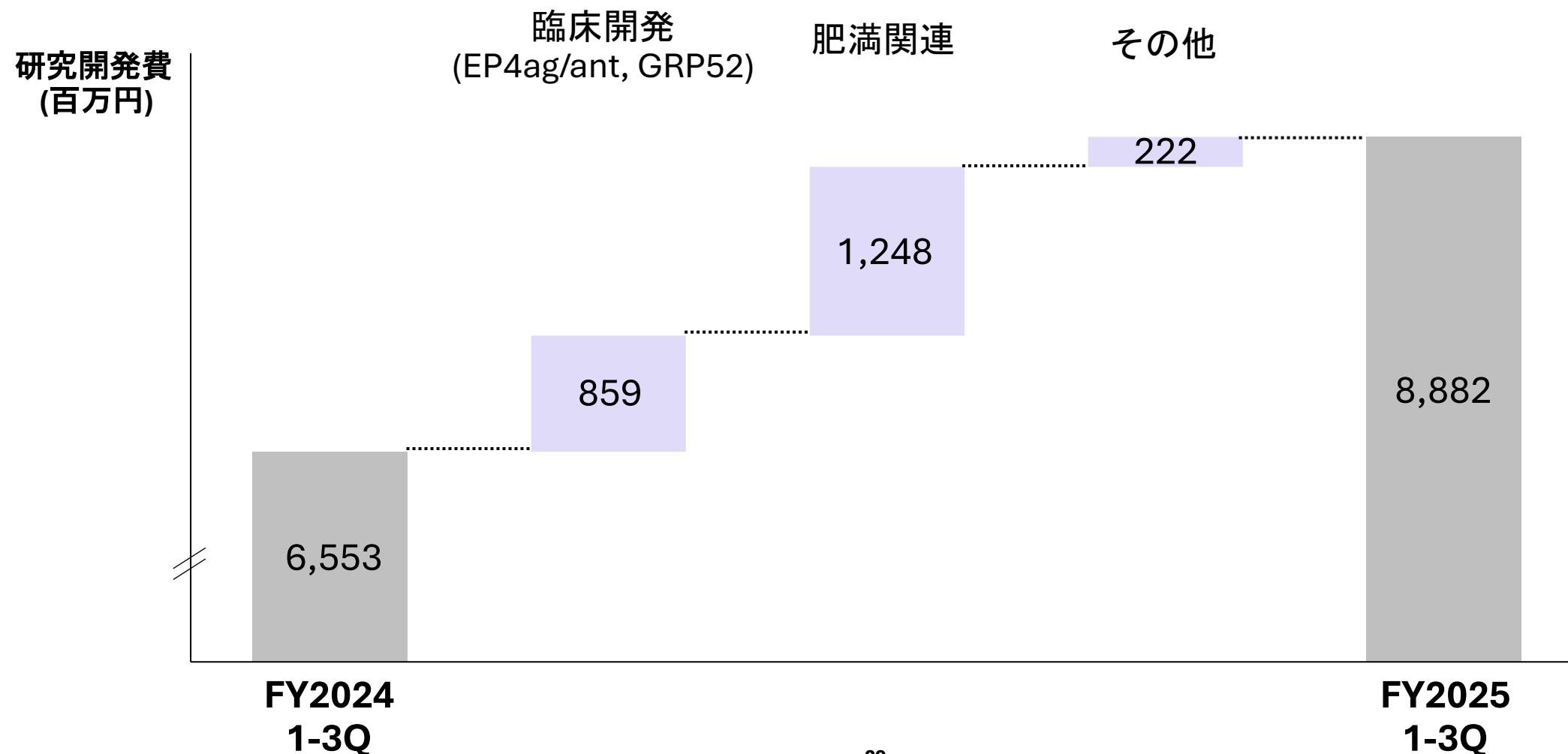
B その他の無形資産(知財等)の償却、有形固定資産(実験設備等)の償却、株式報酬費用、およびその他の統合関連・構造改革費用

*1 = ネクセラファーマ株式会社(旧そせいグループ株式会社) + Nxera Pharma UK Ltd(旧Heptares Therapeutics Ltd.)、但し、ネクセラファーマ株式会社のスイス支社を除く

*2 = ネクセラファーマジャパン株式会社(旧イドルシアファーマシューティカルズジャパン株式会社) + Nxera Pharma Korea(旧Idorsia Pharmaceuticals Korea) + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社

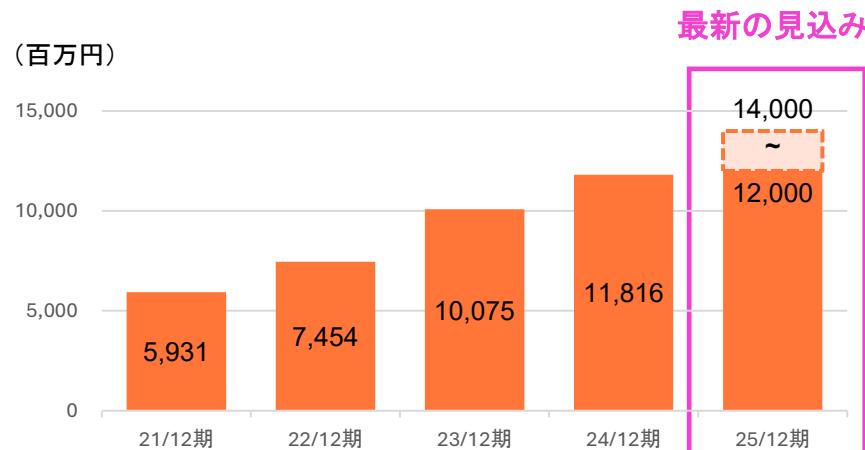
プラットフォーム事業におけるコアベースの研究開発費のブレークダウン

Q3は自社臨床開発品に加え、肥満領域への投資が大きく増加



2025年12月期の費用見込み

開発段階の進展や後期品獲得を見込み研究開発費はやや増加、販管費は効率化によりやや減少～フラットを見込む

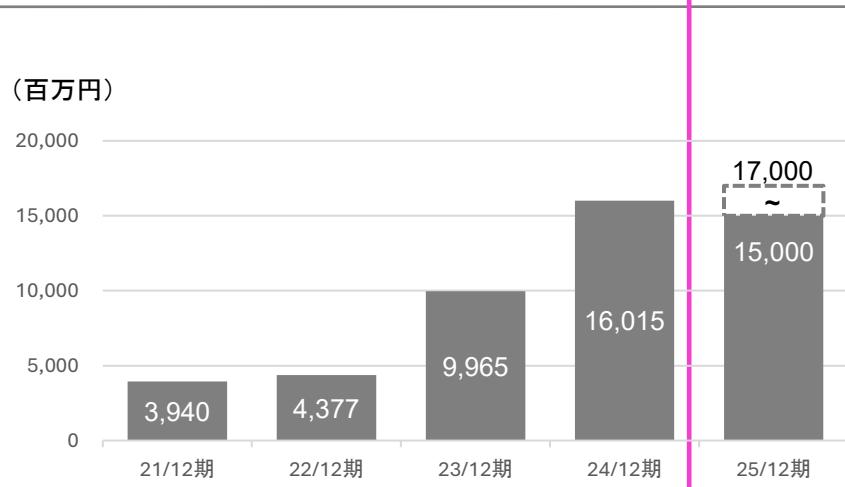


研究開発費(IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円(据え置き)

主なポイント

- 研究開発費圧縮により現時点でレンジ内に収まる見込み
- 自社開発プログラム(EP4拮抗薬、EP4作動薬、GPR52作動薬)の臨床開発がフェーズ1b～2試験に移行
- 日本での後期開発品獲得・開発費用を見込む



販売費及び一般管理費(IFRSベース)

15,000百万円～17,000百万円(据え置き)

主なポイント

- 今後のグループ成長を見据え、ITによる効率化に投資
- クービビック®販売開始に伴い、無形資産の償却費が増加
- 経費使用の効率化で、全体としてはやや減少～フラットを見込む

~

Thank you



BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS

~

補足資料

05



執行体制のスリム化と人員最適化



クリス・カーギル
CEO



野村広之進
CFO



前田敏宏
COO



パトリック・フォルシュ
CSO



キーラン・ジョンソン
CAO



キャンデル・チョン
COS



中藤万里子
CLO

管掌エリア

グループ戦略・
業務執行

資本構成・IR及び
事業開発

ネクセラファーマ
ジャパン社長
日本・APAC
臨床開発・
コマーシャル

Nxera Pharma UK
社長
英国研究開発

トレジャリー・
財務報告

サポート機能

法務・
コンプライアンス

よりスリムで集約された組織の構築により、コスト基盤の強化、成長の加速を図る

注：吉住 和彦氏（CCO）が2026年3月の株主総会をもって退任予定



提携済パイプライン①

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
提携											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS							
ウルティプロ®	LAMA+LABA	低分子	COPD	NOVARTIS							
エナジア®	LAMA+LABA+ICS	低分子	喘息	NOVARTIS							
オラビ®	抗真菌薬ミコナゾール	低分子	口腔咽頭カンジダ症	Hisamitsu							
Cenerimod	S1P ₁ 受容体モジュレーター	低分子	SLE	VIATRIS™							
NBI-1117568	ムスカリンM4作動薬	低分子	統合失調症	NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117568	ムスカリンM4作動薬	低分子	双極性障害	NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117569	ムスカリンM4作動薬	低分子	神経疾患	NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117570	ムスカリンM1/M4作動薬	低分子	神経疾患	NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117567	ムスカリンM1作動薬	低分子	神経疾患	NEUROCRINE BIOSCIENCES							
PF-07054894	CCR6拮抗薬	低分子	炎症性腸疾患	Pfizer							
PF-07258669	MC4拮抗薬	低分子	低栄養	Pfizer							
(非開示)	CGRP拮抗薬	低分子	神経疾患	Pfizer							
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数の適応症	Genentech A Member of the Roche Group							
(非開示)	複数ターゲット	低分子	神経疾患	abbvie							
(非開示)	複数ターゲット	低分子	糖尿病・代謝性疾患	Lilly							

注:シーブリ®、ウルティプロ®、エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。



提携済パイプライン②

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
共同開発											
KY1051	CXCR4 mAb	モノクロナール抗体	がん免疫	sanofi							
(Not disclosed)	AI-Augmented Drug Discovery	低分子	神経疾患/免疫疾患	PHARMENABLE							
(Not disclosed)	Multi target	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患	precisionlife							
共同出資											
TMP-301*	mGlu5 NAM	低分子	アルコール依存症	TEMPERO BIO™							
TMP-301*	mGlu5 NAM	低分子	コカイン依存症	TEMPERO BIO™							
ORX750	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー1/2型、IH	CENTESSA Orexia Therapeutics							
ORX142	OX2作動薬(経口)	低分子	精神疾患の日中の過度の眠気	CENTESSA Orexia Therapeutics							
ORX489	OX2作動薬(経口)	低分子	神経疾患	CENTESSA Orexia Therapeutics							

注:シーブリ®、ウルティプロ®、エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。

* 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です



自社開発パイプライン

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
自社開発品											
ピヴラツツ®	ETA 拮抗薬	低分子	脳血管攣縮	NXera							
クービック®	デュアルオレキシン受容体拮抗薬	低分子	不眠症	SHIONOGI							
NXE0048149 ¹	GPR52 作動薬	低分子	神経疾患	Boehringer Ingelheim							
NXE0039732 ²	EP4 拮抗薬	低分子	がん免疫	NXera							
NXE0033744	EP4 作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXera							
NXE0027477	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXera							
(非開示)	ムスカリンM1作動薬(日本)	低分子	神経疾患	NXera							
(非開示)	SARS CoV-2 Mpro 阻害薬	低分子	コロナウイルス感染症	NXera							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	神経疾患	NXera							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	消化器・炎症性疾患	NXera							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	免疫疾患	NXera							
自社開発品(これ以上の自社での資金投入は行わず、アカデミアまたは製薬企業等との提携を目指す)											
NXE'310	SSTR5 作動薬	ペプチド	低血糖症	NXera							
NXE'097	GLP-1 拮抗薬	ペプチド	低血糖症	NXera							
NXE'023	デュアルGLP-2/GLP-1作動薬	ペプチド	腸管障害/ NASH	NXera							
(非開示)	Apelin 作動薬	ペプチド	肺動脈性肺高血圧症	NXera							
NXE'641	デュアルオレキシン拮抗薬	低分子	不眠症/睡眠障害	NXera							
(非開示)	PAR-2 抗体	モノクローナル抗体	アトピー性皮膚炎	NXera							

1:パートナーがオプション権を保有

2: *NXE0039732(EP4拮抗薬)は導出品ではないため自社品として分類。2022年に締結した臨床試験およびライセンス契約に基づき、Cancer Research UKが第 I / II a 相臨床試験の資金拠出、デザインおよび実施を行い、当社がその後の臨床開発・商業化に向け、本剤に対するこの試験結果のライセンスを保有。



プログラムの進捗加速とポートフォリオ全体のROI向上をさらに明確化

自社開発



成功確度が高く高い価値の創出が期待できるベストインクラスとなる可能性のあるプログラムに投資

*: APAC(中国を除く)には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む。 **: NXE0039732 (EP4拮抗薬) は導出品ではないため自社品として分類。2022年に締結した臨床試験およびライセンス契約に基づき、Cancer Research UKが第I / IIa 相臨床試験の資金拠出、デザインおよび実施を担い、当社がその後の臨床開発・商業化に向け、本剤に対するこの試験結果のライセンスを保有。

** 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢を検討中



Platform

構造ベース創薬から臨床へ：3つのパイプライン、3つのカタリスト

化合物	ライセンスに関する オプション権を保有  Boehringer Ingelheim	当社が創出 	当社が創出 	当社が創出 
ステージ	GPR52作動薬 (NXE-149)	Ph1b試験が 25年Q4に完了予定	EP4作動薬 (NXE-744)	Ph2試験開始 (2025年9月)
適応	統合失調症		炎症性腸疾患	進行性固形がん
グローバル患者数	2,400万人		1,000万人	1,800万人

当社の技術・プラットフォーム・ノウハウを活用し、利便性が高く、コスト効率がよく、製造が容易な経口低分子薬を設計し、主要疾患の治療に変革を起こしていく

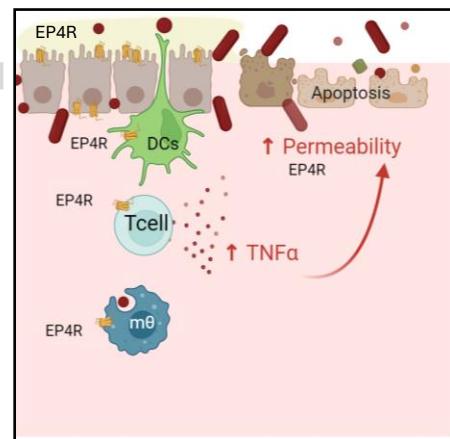


EP4受容体作動薬 - 炎症性腸疾患(IBD)

IBD患者の消化管内の粘膜治癒を促進するファーストインクラスの開発品

疾患メカニズムとの関連

- IBDは免疫疾患であり、現在の標準治療薬の奏効率は良くても40%程度
- 承認済IBD治療薬はすべて免疫調節薬であり、疾患によって誘発される粘膜バリア機能の喪失に直接作用するものはない
- EP4受容体作動薬は炎症抑制作用とバリア機能の回復作用を併せ持ち、粘膜の治癒促進によりIBDに効果を発揮することが期待されている
- EP4受容体への拮抗剤は、これまで臨床試験で初期的な有効性は確認されていたが、全身への副作用の観点で制約があった



バリア機能の改善 &
恒常性の回復により
腸管透過性を低減

Created with BioRender.com

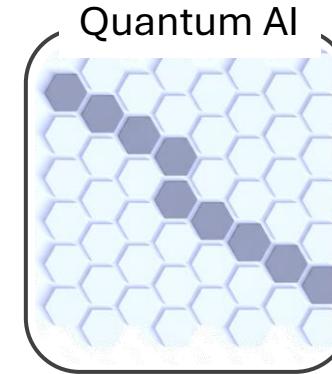
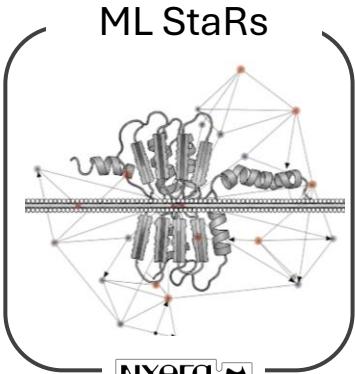
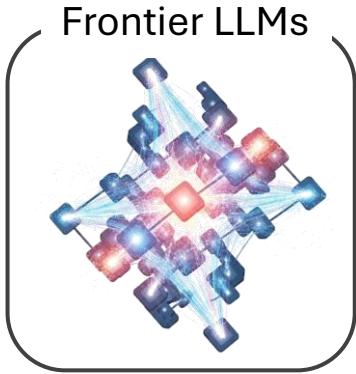
開発進捗

- **FTIH SAD/MAD試験は完了**
 - 現在までに有害事象は認められず、全身曝露も観察されていない
 - 経口投与後の腸管組織における高濃度が測定された
 - 潰瘍性大腸炎(UC)患者コホート試験が進行中で、インドメタシン負荷モデルのデータを2026年1Q取得予定
 - プロジェクト戦略の策定に向け、Ph1試験から得られたバイオマーカーデータを解析中

Study Link :

<https://www.isrctn.com/ISRCTN70080074?q=nxera&filters=&sort=&offset=1&totalResults=2&page=1&pageSize=10>

「NxWave™」はAIの進展とともに急速に進化



データ

情報

知見・ノウハウ

- ✓ 業界最大級の当社独自のGPCR構造—リガンド・データセットを蓄積・学習したAIと、GPCR志向の源泉ケモゲノミクス化合物ライブラリを組み合わせる
- ✓ 設計→合成→試験→学習のサイクルを圧縮し、従来は困難だった受容体の標的化を可能にし、より迅速かつ効率的な創薬を推進するよう設計



設計
機械学習のための独自データセットを提供

創製
当社「NxWave™」プラットフォームから創出

解析
~60のユニークな受容体

AI時代において「NxWave™」を再構築—創薬の自動化によりさらに優れた医薬品を迅速に創出



Platform

2025年の着実なパイプライン進捗とマイルストーン達成

最先端のテクノロジーにより、画期的な医薬品をいち早く届ける

創薬段階



肥満領域で7つの自社パイプラインを発表
4つの作動薬: GLP-1, GIP, Apelin, Amylin
1つの拮抗薬:GIP
長時間作用型:非開示

8月

[PR LINK](#)

糖尿病および代謝性疾患における複数のターゲットを対象にした研究開発提携において開発マイルストン達成(ターゲット、金額は非開示)

6月

[PR LINK](#)

NxWave™による神経疾患における差別化ヒット化合物を同定・検証することに対するマイルストン達成(金額10百万米ドル)

9月

[PR LINK](#)

Centessa 社との研究開発提携において、2番目となる新規OX2R作動薬 ORX142の臨床試験開始によりマイルストン受領(4.8百万米ドル)

7月

[PR LINK](#)

フェーズ 1



ファーストインクラス GPR52作動薬NXE-149の P1b (PoM) 試験は継続中。25年Q4に完了予定。

11月

[PR LINK](#)

フェーズ 2



ニューロクライン社はアメリカ臨床精神薬理学会(ASCP)において、NBI'568 のP2試験に関して新たな良好なデータを発表

5月

[PR LINK](#)

フェーズ 3



統合失調症治療薬候補 NBI'568のP3試験で、被験者投与開始により15百万米ドルのマイルストン受領2,3番目のP3試験もClinicalTrials.gov上に公開

6月

[PR LINK](#)

選択的EP4拮抗薬NXE-732の P1用量漸増試験完了。P1試験結果をESMOで発表。P2試験を9月に開始。

10月

[PR LINK](#)

ファーストインクラスEP4作動薬NXE-744の FTIH SAD/MAD は完了。PoM コホートが進行中。26年 Q1に完了予定。

11月

[PR LINK](#)

Tempero Bio社はTMP-301を一時停止し選択肢を検討中

10月

世界をリードするNxWave™ 創薬プラットフォームによりイノベーションを加速し、臨床試験でも成功を収めた

 :2025年の進捗

2025年のイベントにより価値向上を加速

開発プログラム	提携先	時期	イベント
✓ Cenerimod	 VIATRIS™	2025年2月	日本・APAC(中国除く)の権利を譲渡
✓ クービック®		2025年2月	台湾における提携
✓ TMP-301(mGlu5 NAM)		2025年3月	アルコール依存症を対象としたフェーズ2試験開始
✓ NBI'568(M4作動薬)		2025年4月	統合失調症を対象としたフェーズ3試験開始
✓ 創薬提携の進捗		2025年6月	創薬段階における開発の進捗
✓ NXE'732(EP4拮抗薬)	 CANCER RESEARCH UK	2025年9月	進行性固形がんを対象としたフェーズ2a試験開始
✓ 創薬提携の進捗		2025年9月	創薬段階における開発の進捗
✓ NXE'732(EP4拮抗薬)	 CANCER RESEARCH UK	2025年10月	フェーズ1b試験トップラインデータ発表(ESMO)
✓ ORX750(OX2作動薬)		2025年11月	フェーズ2試験データ取得(NT1/NT2/IH)
NBI'568(M4作動薬)		2025年下期	双極性障害を対象としたフェーズ2試験開始
NBI'570(M1/M4作動薬)		2025年下期	統合失調症を対象としたフェーズ2試験開始
NXE'149(GPR52作動薬)	 Boehringer Ingelheim	2025年下期	フェーズ1b試験完了
NBI'567(M1作動薬)/NBI'569(M4作動薬)/NBI'570(M1/M4作動薬)		2025年	フェーズ1試験データ取得

神経科学・代謝性疾患の最も注目される分野における臨床パイプラインの進展

提携先の進展については、パートナーからの開示等があったものに限って記載

** 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢を検討中



臨床試験

タイプ	開発品目	作用機序	対象疾患名	開発段階	被験者数	患者対象	開始日	終了日*	最終更新日	リンク（主/最新）	リンク（その他）
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph2	210	Yes	2022-10-04	2024-07-10	2025-07-11	NCT05545111	-
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-05-08	2027-10	2025-10-24	NCT06963034	NCT07114874
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-08	2027-11	2025-09-23	NCT07105098	NCT07114874
導出	NBI-1117569	M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	NBI-1117570	M1/M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	No	2024-03-11	2025-09-04	2025-03-14	2023-508814-40-00	-
導出	NBI-1117567	M1 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	PF-07054894	CCR6 拮抗薬	炎症性腸疾患	Ph1	40	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2025-09-29	NCT05549323	NCT06327880 NCT04388878 NCT07009353
導出	PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	26	No	2024-12-11	2025-02-20	2025-08-03	NCT06706869	NCT04628793 NCT05113940 NCT07086664
導出	TMP-301**	mGlu5 NAM	アルコール依存症	Ph2	110	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2025-07-10	NCT06648655	-
導出	TMP-301**	mGlu5 NAM	コカイン依存症	Ph1	18	Yes	2025-01-04	2025-05-05	2025-05-18	NCT06648668	-
導出	ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	96	Yes	2024-12-23	2025-12	2025-10-09	NCT06752668	NCT07096674
導出	ORX142	OX2 作動薬	神経疾患、神経変性疾患	Ph1	208	No	2025-06-30	2025-12-31	2025-07-24	NCT07082829	-
導出	Cenerimod	SIP1 modulator	全身性エリテマトーデス(SLE)	Ph3 Ph3	420 420	Yes Yes	2022-12-13 2023-06-26	2026-10-31 2026-10-31	2025-10-15 2025-10-15	NCT05648500 NCT05672576	NCT06475742
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-06-07	2025-11-15	2024-11-05	ISRCTN44913564	ISRCTN17231793
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	150	Yes	2023-07-13	2027-06	2025-06-08	NCT05944237	-
自社	NXE0033744	EP4 作動薬	炎症性腸疾患	Ph1	最大220	-	2023-11-24	2026-06-30	2024-05-02	ISRCTN70080074	-

*主要評価項目完了日(見込)

** 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です



潜在市場規模

前臨床試験以降の開発品だけでも、最終製品はピーク売上高が数兆円のポテンシャル

カテゴリー	疾患名 ²	患者数	ピーク売上高		当社開発品
			市場全体	個別製品	
神経疾患	認知症	約5,500万人	73億ドル (2010)	39億ドル (2009/Aricept)	M1 作動薬、M1/M4 作動薬
	統合失調症	約2,000万人	207億ドル (2011)	57億ドル (2013/Abilify)	M4 作動薬、M1/M4 作動薬、GPR52 作動薬
	物質使用障害	約1,040万人 ¹	-	-	mGlu5 NAM
	ナルコレプシー	約300万人	25億ドル (2024)	14億ドル (2024/Xywav)	OX2 作動薬
免疫疾患	がん	約4,200万人	2,105億ドル (2024)	287億ドル (2024/Keytruda)	EP4 拮抗薬
	炎症性腸疾患	約1,000万人	238億ドル (2024)	62億ドル (2022/Humira)	CCR6 拮抗薬、GPR35 作動薬、EP4 作動薬
	全身性エリテマトーデス	約500万人	27億ドル (2024)	19億ドル (2024/Benlysta)	Cenerimod
代謝性疾患	2型糖尿病/肥満	約4.2億人	768億ドル (2024)	182億ドル (2024/Ozempic)	GLP1 作動薬
	拒食症	約1,000万人	-	-	MC4 拮抗薬
合計			約3,440億ドル/年	約660億ドル/年	

出所(患者数) : World Health Organization, Evaluate Pharma, The European Federation of Crohn's & Ulcerative Colitis Associations (EFCCA), Narcolepsy Network, Inc., The Lupus Foundation of America, GBD 2015 Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators (October 2016). "Global, regional, and national incidence, prevalence, and years lived with disability for 310 diseases and injuries, 1990-2015: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2015". Lancet. 388 (10053): 1545-1602 ¹薬物依存症の患者数として記載

出所(ピーク売上高) : EvaluatePharmaの疾患別売上高と個別製品のうち当該疾患分の売上高を記載(2024年12月25日時点)² 当社グループは特定疾患の市場の中の一つのセグメントを対象とする可能性



独占的オプション権および優先交渉権/優先拒否権

Idorsia社のグローバル開発品から5品目を日本およびAPAC向けに開発できるオプション権を保有

プログラム	作用機序	適応	開発段階	地域
独占的 オプション権	Lucerastat	グルコシルセラミド合成酵素阻害薬	ファブリー病	フェーズ3
優先交渉権 および 優先拒否権	ACT-1004-1239	ACKR3 / CXCR7 拮抗薬	多発性硬化症およびその他の脱髓疾患	フェーズ2*
	ACT-1014-6470	C5aR1 拮抗薬	免疫介在性疾患	フェーズ1*
	IDOR-1117-2520	非開示	免疫介在性疾患	フェーズ1*
	ACT-777991	CXCR3 拮抗薬	発症早期の1型糖尿病	フェーズ1*

APAC地域
(中国を除く)¹

¹ APAC(中国を除く)には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む

* グローバル臨床試験段階



「コア営業利益」の導入

コア営業利益 – 当社グループビジネスの実態により近い財務指標

営業利益 「コア」

- コア営業利益は2022年より算出・開示する新しい主要財務指標で、事業の潜在的な経常キャッシュ創出能力を示す
- コア営業利益は営業利益(IFRS) + 重要な非現金支出費用 + 重要な一時的支出費用で定義
- 重要な非現金支出費用には、減価償却費、無形資産の償却費、株式報酬費用、減損損失などが含まれる
- 重要な一時的支出費用には、構造改革費用やその他の重要な一時的項目が含まれる
- コア営業利益 = 現金利益 + 重要な一時的支出費用

+ 重要な **非現金** 支出費用

(有形固定資産償却費、無形資産償却費、株式報酬費用、減損損失など)

+ 重要な **一時的** 支出費用

(棚卸資産評価額、構造改革費用やその他の重要な一時的費用)

	現金	非現金 (主なもの)
経常的	「コア」 ベースの費用	
一時的 (主なもの)		「IFRS」ベースの費用

営業利益 「IFRS」

- 国際財務報告基準(IFRS)に準拠して記録・作成された業績



為替レート、無形資産およびノンコア費用

期中平均為替レート

		2025年	2024年	2023年	2022年
USD:JPY	実績	-	151.43	140.53	131.30
	期初予想	152	140	143	
GRP:JPY	実績	-	193.49	174.81	161.76
	期初予想	193	172	166	

無形資産 (百万円)

	2024年末	2023年末	2022年末
ピヴラツツ®	36,164	37,527	-
創薬プラットフォーム	8,365	8,466	8,217
クービビック®	6,825	5,825	-
顧客関連	227	227	219
オラビ®	78	89	101
その他	252	157	40
合計	51,911	52,291	8,577

ノンコア費用 (通期)

	2024年	2023年	2022年
売上原価調整額	2,401	1,812	-
無形資産の償却費	2,371	1,495	782
企業買収関連費用	1,220	1,263	-
有形資産の償却費	1,613	983	563
株式報酬費用	1,396	844	542
構造改革費用	28	53	533
減損損失	-	-	-
合計	9,029	6,450	2,420

株式保有 (%)

	2024年
TemperoBio, Inc	8.863
Centessa	0.70
Biohaven	0.03



用語集(1/2)

基礎用語・基礎技術		
GPCR	G Protein-Coupled Receptor	Gタンパク質共役受容体。人体に約800種類あることが知られ、そのうち400種類が創薬ターゲットになりうることが知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
NxStaR™	Stabilized Receptor	GPCRに人工的に点変異を起こし、構造を安定化する当社独自の技術。安定化したGPCRの立体構造を解明し、SBDDでの創薬への利用や抗原として抗体医薬の創薬を行うことが可能
SBDD	Structure-Based Drug Design	構造ベース創薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の三次元構造を解析し、それに基づいてコンピューター上で医薬品を設計する手法
TPD	Targeted Protein Degradation	標的タンパク質分解誘導薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の細胞内の分解を促進し、量を減らすことで治療効果を狙う薬剤
PAM	Positive Allosteric Modulator	陽性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を増加させる調整因子
NAM	Negative Allosteric Modulator	陰性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を減少させる調整因子
Ag	Agonist	アゴニスト: 作動薬。受容体に結合し、生体内物質と同様の細胞内情報伝達系を作動させる薬物
Ant	Antagonist	アンタゴニスト: 拮抗薬。受容体に結合し、本来結合すべき生体内物質と受容体の結合を阻害し、生体反応を抑制する薬物
PK	Pharmacokinetics	薬物動態。薬剤の用法・用量と血中濃度の関係に関する研究・試験。主にADMEの速度過程を記述する
PD	Pharmacodynamics	薬力学。薬物濃度と薬理効果の関係に関する研究・試験
ADME	Absorption, Distribution, Metabolism and Excretion	吸収(absorption)・分布(distribution)・代謝(metabolism)・排泄(excretion)の頭文字。薬物の体内への吸収、体内への分布、肝臓などでの代謝、腎臓などでの排泄の一連の流れ
PoM	Proof of Mechanism	作用機序の検証。主にバイオマーカーなどを通じて、作用メカニズムの証明を行うこと。POCよりも少数例で有効性の可能性を示唆する意味合い
PoC	Proof of Concept	治療概念の実証。主に臨床での有効性と安全性によって、治療概念の証明を行うこと
Ach	Acetylcholine	アセチルコリン。副交感神経や運動神経の末端から放出され、神経刺激を伝える神経伝達物質
IND	Investigational New Drug	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に臨床試験の開始時に提出する、開発候補品の情報をまとめたパッケージとその提出
Ph1	Phase1	ヒトでの試験。第Ⅰ相臨床試験ともいう。主に健康なボランティアによって開発候補品の安全性を確認することを主目的とする
Ph2	Phase2	ヒトでの試験。第Ⅱ相臨床試験ともいう。主に小規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確認することを主目的とする
Ph3	Phase3	ヒトでの試験。第Ⅲ相臨床試験ともいう。主に大規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確定させることを主目的とする
NDA	New Drug Application	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に対して行う、新薬を市販するための承認申請

疾患名・薬品名		
LAMA	Long Acting Muscarinic Antagonist	長時間作用型抗コリン薬。副交感神経を亢進させるアセチルコリンの受容体(M3)に作用し、その働きを阻害することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
LABA	Long Acting Beta2-Agonist	長時間作用型β2刺激薬。気管支の交感神経β2受容体を刺激することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
ICS	Inhaled Corticosteroid	吸入ステロイド薬。抗炎症作用で気道の炎症を抑制し、喘息による咳の発作などを予防し、また、β2刺激薬の作用を促進し、気道過敏性を改善する吸入薬
mCRPC	Metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer	転移性去勢抵抗性前立腺がん。前立腺がんの発生・進行に関与している男性ホルモンを抑える治療を行っているにもかかわらず、再び病状が悪化(再燃)してしまった前立腺がん
COPD	Chronic Obstructive Pulmonary Disease	慢性閉塞性肺疾患。喫煙や有害物質を吸入することで気管支や肺胞がダメージを受け呼吸障害をきたした病態
AD	Alzheimer's Disease	アルツハイマー病。脳の神経細胞の減少、脳の一部の萎縮により認知機能が徐々に低下していく神経変性疾患で、認知症の中で最も多いタイプ
DLB	Dementia with Lewy Bodies	レビー小体型認知症。大脳皮質の神経細胞にレビー小体という物質が沈着し、認知症を生じるもの。アルツハイマー病に次ぎ、2番目に多い認知症



用語集(2/2)

創薬ターゲット関連

		創薬ターゲット関連
M1	Muscarinic M1 Receptor	ムスカリノンM1受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリノン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。学習、記憶に関与していると考えられている
M4	Muscarinic M4 Receptor	ムスカリノンM4受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリノン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ドバミン放出に関与していると考えられている
CGRP	Calcitonin Gene-Related Peptide	カルシトニン遺伝子関連ペプチド。受容体を介して血管拡張、心拍数減少および心筋収縮力増大などに関与していると考えられている
A2A	Adenosine A2A receptor	アデノシンA2A受容体。アデノシン受容体の4種のサブタイプA1、A2A、A2B、A3の1つ。多くの組織に発現し神経活動、血管拡張、免疫調整など多くの機能を持つとされる
GLP-1	Glucagon-like Peptide 1	グルカゴン様ペプチド-1。食事をとると消化管細胞より分泌され、受容体を介した膵臓からのインスリン分泌や中枢での食欲調整に関与するとされる
CCR6	Chemokine Receptors 6	炎症時に発生するケモカインに対応する、Bケモカイン受容体の一種。主に炎症組織内への白血球の遊走活性を制御することで、炎症・免疫に関係するとされている
MC4	Melanocortin 4 Receptor	メラノコルチノン受容体4。中枢神経系に発現し、αメラノサイト刺激ホルモンの食欲抑制作用を媒介する主たる受容体
GPR35	G Protein-Coupled Receptor 35	Gタンパク質共役受容体35。オーファン受容体。主に免疫および胃腸組織で発現し、消化管や循環器、炎症、中枢神経系の疾患に関与していると考えられている
CXCR4	CXC Motif Chemokine Receptor 4	CXCモチーフケモカイン受容体タイプ4。がん細胞の遊走を誘導し、転移などの過程に重要であるとされる
mGlu5	Metabotropic Glutamate Receptor 5	代謝型グルタミン酸受容体5。中枢神経系に発現する代謝型グルタミン酸受容体の1つ。グルタミン酸はヒトの神経系で最も豊富に存在する興奮性神経伝達物質として知られる
OX1、OX2	Orexin 1 Receptor、Orexin 2 Receptor	オレキシン1受容体およびオレキシン2受容体。オレキシンは、神経ペプチドの一種であり、受容体を介して覚醒の安定化および睡眠の抑制に関与していると考えられている
GPR52	G Protein-Coupled Receptor 52	線条体において多く発現するオーファン受容体。精神・神経疾患における前頭葉-線条体および大脳辺縁系のドーバミンの調節に役割を果たす可能性がある
H4	Histamine H4 Receptor	ヒスタミンH4受容体。特に免疫系細胞に多く発現し、炎症やアレルギーに関与していると考えられている
EP4	Prostaglandin EP4 Receptor	プロstagラジンE受容体4。自然免疫および獲得免疫を抑制し、腫瘍の進行を誘導すると考えられている
PAR2	Protease-Activated Receptor 2	プロテアーゼ活性化受容体2。炎症、腫瘍転移、胃腸運動、痛み、かゆみのようなど多くの生理学的および病態生理学的プロセスに関連していると考えられている
SSTR5	Somatostatin Receptor 5	ソマトスタチン受容体5。主に小腸内分泌細胞や膵β細胞に発現している受容体で、ソマトスタチンの結合でGLP-1やPYYなどの消化管ホルモンの分泌を抑制する
GLP-2	Glucagon-like Peptide 2	グルカゴン様ペプチド-2受容体。腸内GLP-2は、栄養摂取時にGLP-1とともに分泌され、腸管の修復、保護にはたらく
Mpro	SARS-CoV-2 Main Protease	SARS-CoV-2(COVID-19の原因ウイルス)のメインプロテアーゼ(Mpro)。Sars-CoV-2の複製に必須な酵素。抗ウイルス薬の開発に際して標的となるタンパク質の一つ
5-HT	5-Hydroxytryptamine Receptor	5-ヒドロキシトリプタミン(セロトニン)受容体。セロトニンは、中枢神経系の伝達物質として、脳機能の調節において重要な役割を果たすと考えられている
オーファン受容体		遺伝子解析などにより存在が知られているものの、リガンドが特定されていない受容体。孤児受容体ともいう
リガンド		特定の受容体に対応して、生体内で特異的に結合する物質。ホルモンや神経伝達物質など。例えば、ムスカリノン受容体のリガンドはアセチルコリン



Locations



東京都港区赤坂
9-7-2
ミッドタウンイースト
107-0052

日本 東京



F17, 410 Teheran-
Ro
GangHam-Gu
Seoul 06192

韓国 ソウル



Steinmetz Building
Granta Park,
Cambridge
CB21 6DG

英国 ケンブリッジ



Spaces Grosspeter
Tower,
Grosspeteranlage
29,
4052 Basel

スイス バーゼル