



# 2025年12月期中間期決算説明資料

2025年8月8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

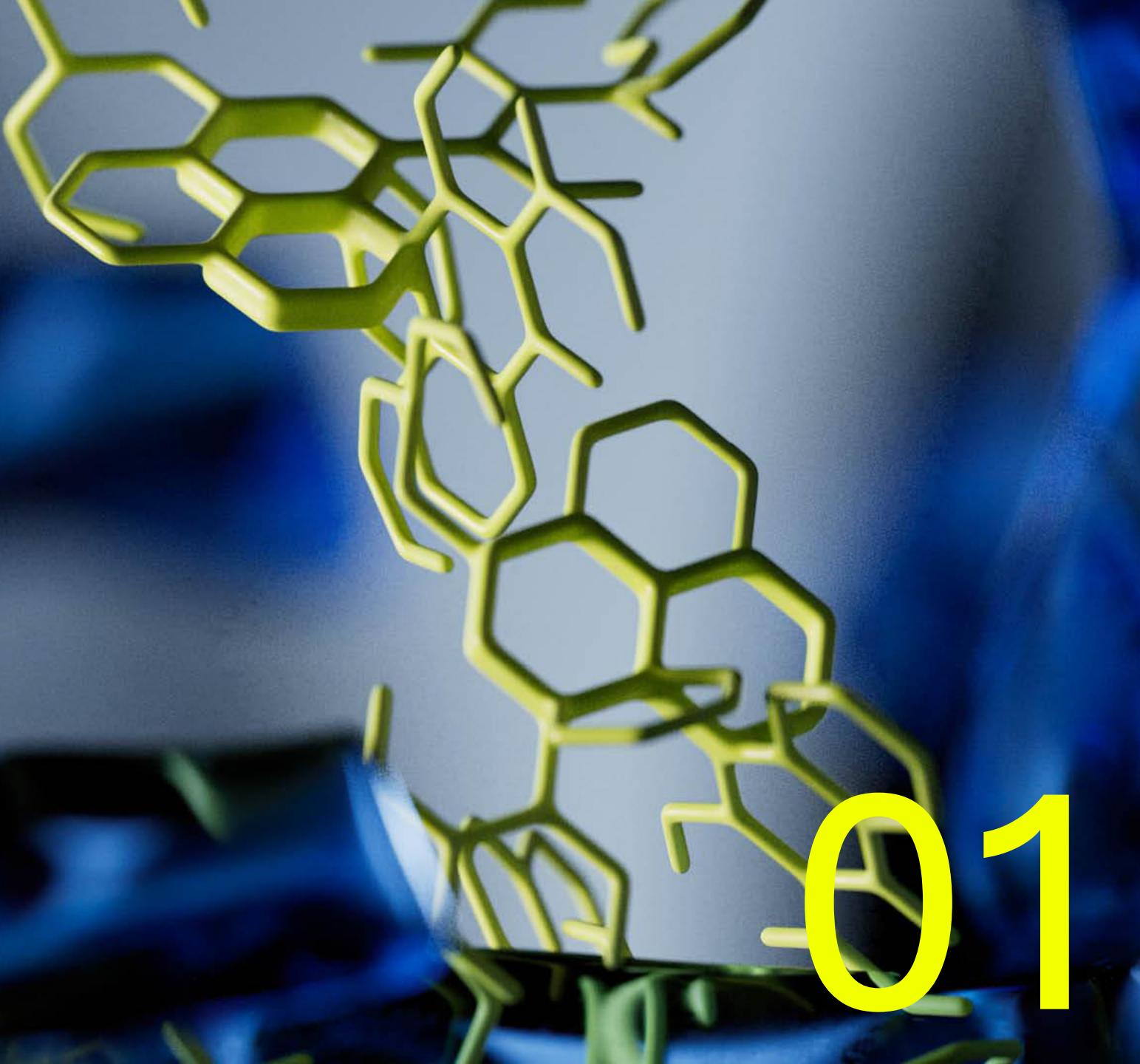
- 01 ビジネスハイライト**
- 02 連結業績**
- 03 日本/APACでの開発販売事業**
- 04 研究開発の進捗**
- 05 2025年の目標と将来のビジョン**
- 06 補足資料**

~

# ビジネスハイライト

CEO クリストファー・カーギル

01





## 2025年の主な目標

01

製品関連の売上高170億円以上(ピヴラツツ<sup>®</sup> + クービビック<sup>®</sup>)



02

日本とAPAC(中国を除く)市場向けに、  
1品目以上の後期開発品の取得もしくは導入



03

1つ以上の価値の高い提携契約の締結、  
自社によるフェーズ2試験を1つ以上開始



04

効率性、拡張性のためのシステム、  
アプリケーションへの投資を継続



05

IFRS基準で営業黒字を達成(GPR52作動薬のオプション行使時)



# 25/12期1Q以降の進捗

## 会社全体の重要な進展

- ✓ 新しい社外取締役2名の就任により経営体制を強化
- ✓ 新IRヘッドの就任により情報提供活動の強化
- ✓ NPJの代表取締役を2名体制から1名へ変更

## 英国における研究開発

- ✓ TMP-301 (mGlu5 NAM)  
フェーズ2試験開始
- ✓ NBI-568 (M4作動薬)  
フェーズ3試験開始
- ✓ ORX142 (ORX2作動薬)  
フェーズ1試験開始
- ✓ 肥満領域で7つの自社パイプラインを発表
- ✓ PF-522 (GLP-1作動薬)  
フェーズ1試験終了、ポートフォリオ変更により開発中止

## 日本・APAC事業

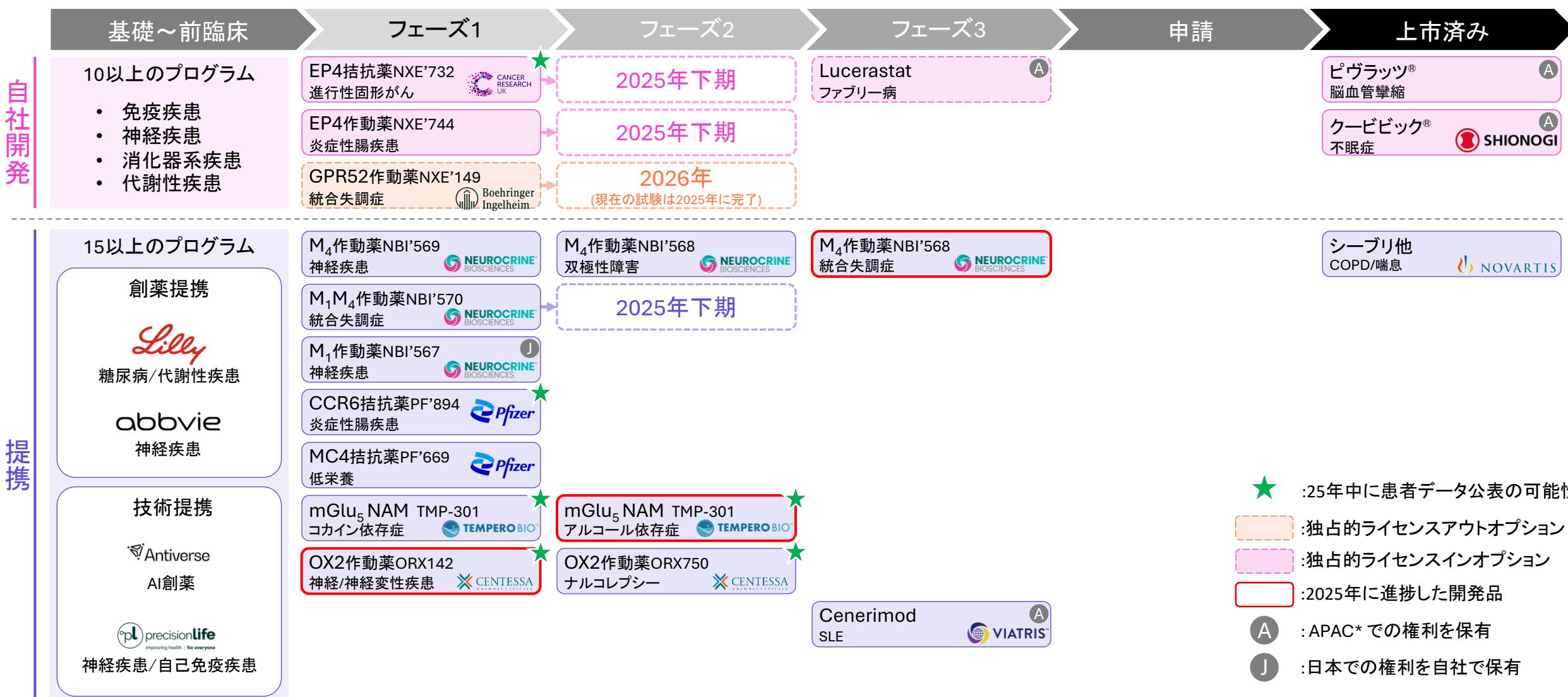
- ✓ ピヴラツツ®は日本で強固なポジションを確立
- ✓ ダリドレキサントの台湾における新規提携(26年半ば発売予定)
- ✓ Cenerimodの日本・APAC権利のヴィアトリス社への譲渡
- ✓ 韓国ピヴラツツ®の薬価交渉から撤退、自由診療等の可能性を模索

※下線は2Q以降の進捗

サイエンスへの注力や自社ケイパビリティの拡大に加え、患者さまへの価値提供を追求



# 主なパイプライン(今後の見通し含む)



\* 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。



# 肥満・慢性的な体重管理に対する広範な自社パイプラインを開示

当社は肥満領域の自社開発で7プログラムが進行中

## 肥満領域の開発品動向(臨床以降)

メカニズム	経口剤*	Nxera
GLP-1 ag	21	✓
GIP ag/ant	1	✓
Amylin ag	1	✓
Apelin ag	0	✓
Other	1	(非開示)

## ハイライト

- 当社は経口医薬品に注力
  - ✓ ポリファーマコロジーの実現
  - ✓ 患者への利便性向上
  - ✓ 新興市場・プライマリーケアへのアクセス向上
  - ✓ コールドチェーン不要
  - ✓ 原価低減・スケールアップが容易
  - ✓ 製造における保険償還におけるメリット
- 当社はGLP-1、GIP、Amylin、Apelinを標的とした複数のプログラムを推進。提携交渉も進行中
- Eli Lillyとの提携で開発マイルストン達成(金額、ターゲット詳細は非開示)。2022年に総額マイルストン最大694百万米ドルの契約を締結



# 連結業績

CFO 野村 広之進

02



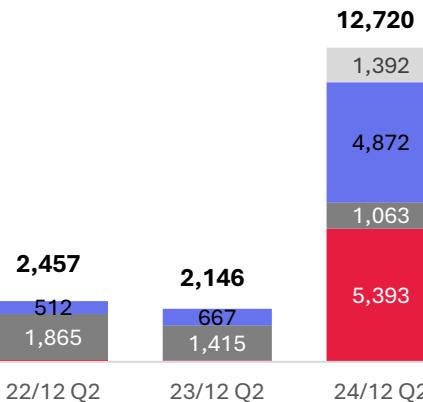
# 主要決算数値

医薬品販売事業が成長し、コア営業利益の黒字化を達成

(百万円)

16,000  
14,000  
12,000  
10,000  
8,000  
6,000  
4,000  
2,000  
0

売上高



## 最新の実績

(百万円)

2,000  
1,000  
0  
(1,000)  
(2,000)  
(3,000)  
(4,000)  
(5,000)

営業損益



## 主な変動要因

### 契約一時金<sup>1</sup>

- 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<sup>2</sup>

- 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)

### 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(5,805百万円)が増加
- 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)

<sup>1</sup> 契約開始時に認識された契約一時金

<sup>2</sup> 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

対社内計画に対して順調な進捗、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)	
売上収益	6,132	-16%	8,962	+66%	15,094	+19%	合計 : 3,120		15,094	+19%	
売上原価	1,065	-2%	2,380	+223%	3,445	+89%	A 債却費 (894)		3,473	-1%	
販管費	2,600	+33%	2,569	-28%	5,169	-6%	B その他 (1,531)		7,566	-6%	
研究開発費	6,087	+47%	692	-1%	6,779	+40%	B その他 (695)		7,474	+36%	
その他収益	668	+42	(5)	-7	663	+36			663	+36	
営業損益	(2,952)	-3,723	3,316	+2,911	コア営業損益 364	-812			営業損益 (2,756)	+898	

**A** 主にピヴラツとクービビックの無形資産の償却

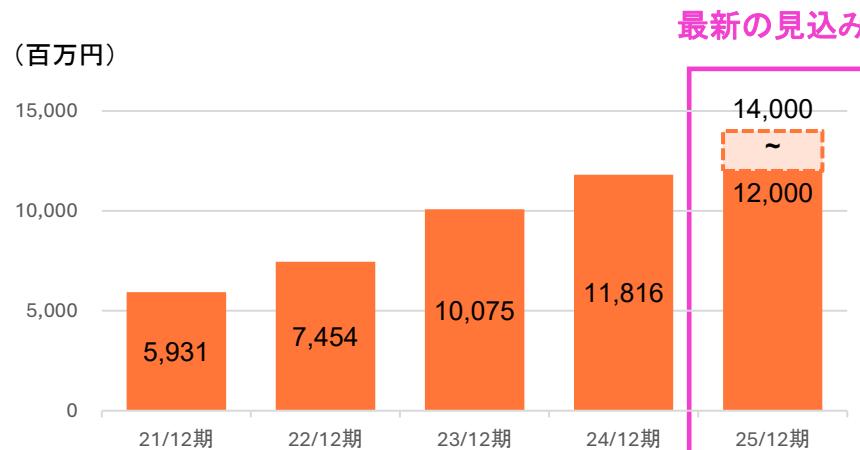
**B** その他の無形資産(知財等)の償却、有形固定資産(実験設備等)の償却、株式報酬費用、およびその他の統合関連・構造改革費用

\*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

# 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

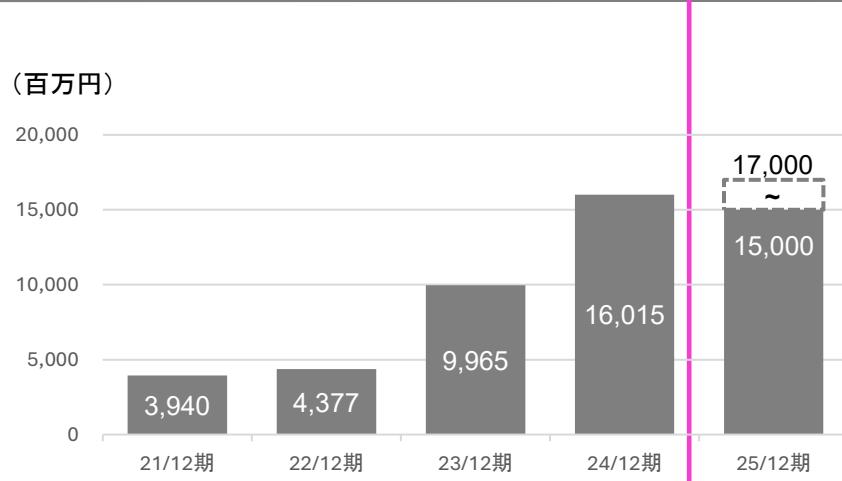


## 研究開発費(IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円(据え置き)

### 主なポイント

- 下期の研究開発費圧縮により計画に変更なし
- 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

~

# 日本/APAC事業

CFO 野村 広之進

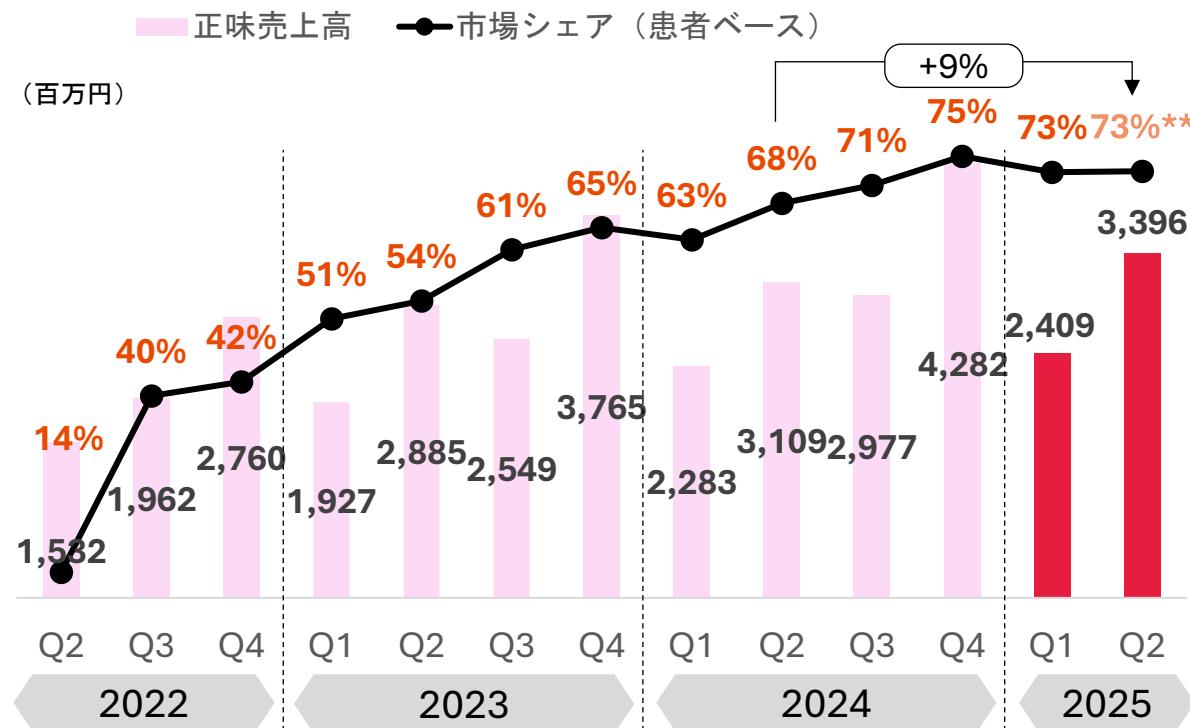
03

# ピヴラツツ®（クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬）

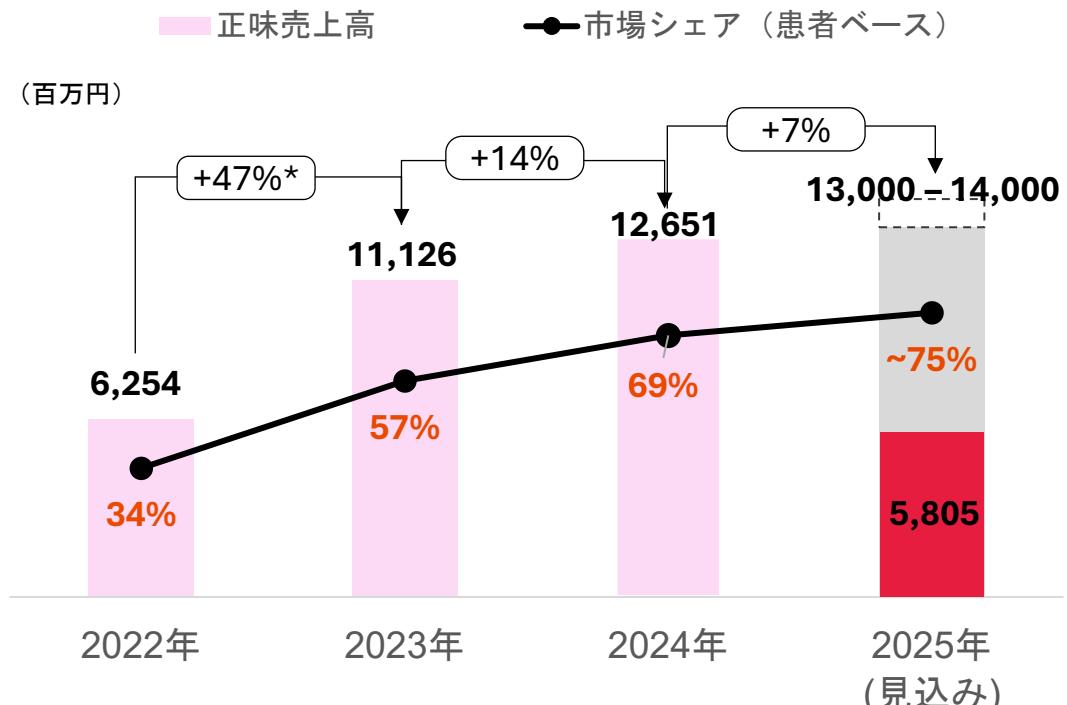
くも膜下出血(aSAH)術後の脳血管攣縮予防を目的とした当社初の上市製品



## ピヴラツツ®の四半期売上



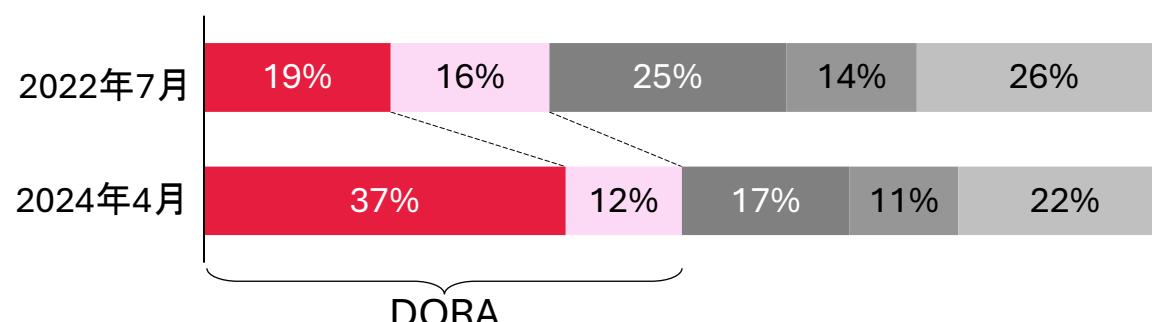
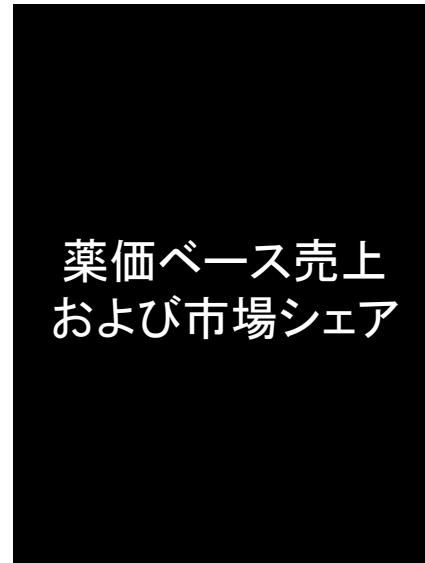
## ピヴラツツ®の年間売上と成長率



会社計画に対して順調な進捗

# クービック®\*: 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



出所: 日経メディカル(2022/7/23, 2024/4/13)



- ✓ 従来型の抗不安薬・睡眠薬が医師から敬遠される傾向にある日本において、DORAは急速に浸透中
- ✓ 日本は世界最大のDORA市場のひとつであり、その市場規模は最大10億ドル(約1,500億円)と推定される
- ✓ パートナーの塩野義製薬とともに、クービック®がベストインクラスの薬剤となることを目指す

# 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

製品供給  
(= COGS)



製品供給  
(= COGS)

原価低減  
ロイヤリティ

Nxera 利益

現在

将来  
(原価低減完了後)

# 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



## 売上推移



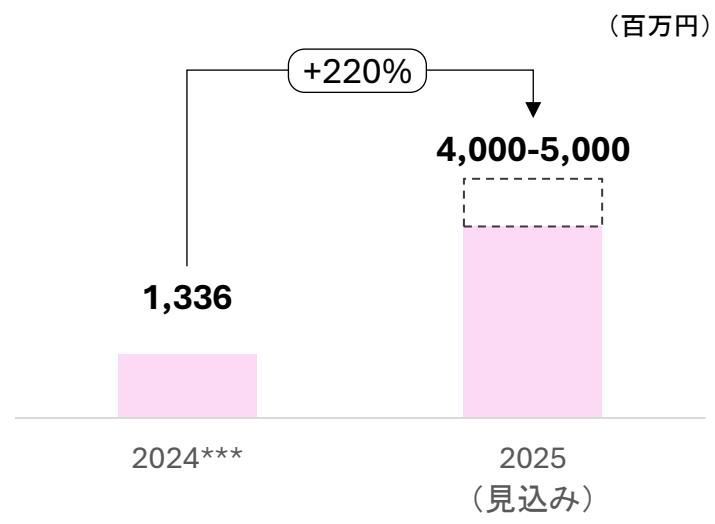
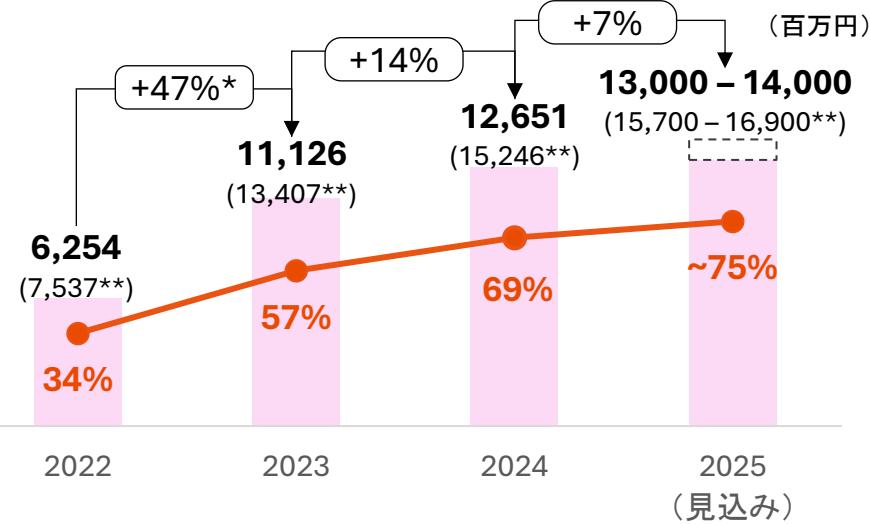
**130～140億円**  
(薬価ベース : 157～169億円)

+7%

**40～50億円**

(塩野義の26/3期予想93億円)

+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

CSO マット・バーンズ

04



# 2025年1Hの主要イベント

サイエンスとテクノロジーへの投資により画期的な医薬品開発を加速

## 創薬



- ✓ 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

2025年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)

2025年6月

[PR LINK](#)

## フェーズ1



- ✓ 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)

2025年6月

[PR LINK](#)

- ✓ ファーストインクラスのGPR52作動薬NXE-149はP1b試験が進行中。2025年下期に同試験完了予定

## フェーズ2



- ✓ Tempero Bio社はアルコール使用障害を対象としたTMP-301のP2試験を開始。TMP-301は、NxWave™プラットフォームを用いて同定・設計された経口投与可能な選択的mGluR5 NAM

2025年3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番目のP3試験もClinicalTrials.gov上に公開(試験ID:NCT07105098)

2025年6月

[PR LINK](#)

- ✓ 選択的EP4拮抗薬NXE-732の用量漸増試験完了。同P1試験結果はESMOで発表予定(2025年10月)



- ✓ ファーストインクラスのEP4作動薬NXE-744の単回投与および用量漸増コホートを含むフェーズ1試験が完了し、現在までに安全性の懸念は認められない

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

✓ 本日の説明事項



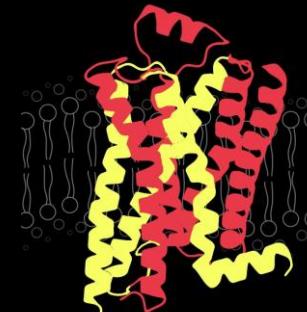
# NxWave™: パイプラインに大きな効果をもたらす独自の構造ベース創薬

## NxWave™プラットフォーム



標的の同定と  
バリデーション

最適な標的の同定



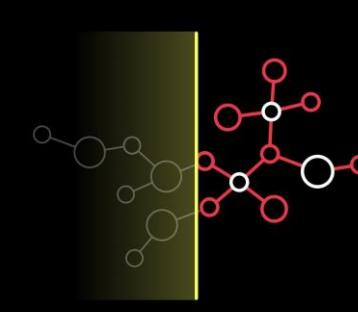
NxStar™

適切な標的の安定化



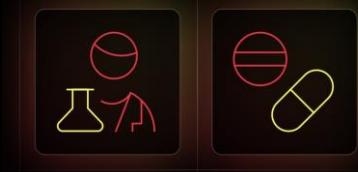
NxHit™

最適化された  
ヒット化合物の同定



NxDesign™

最良の候補化合物を  
選定



トランスレーショナル  
メディシン

治療仮説の検証

## 世界トップクラスの生産性

臨床開発候補品

フェーズ1

フェーズ2

フェーズ3

合計

29

18

5

1

アクティブ(2025年8月時点)

✓ 15

✓ 11

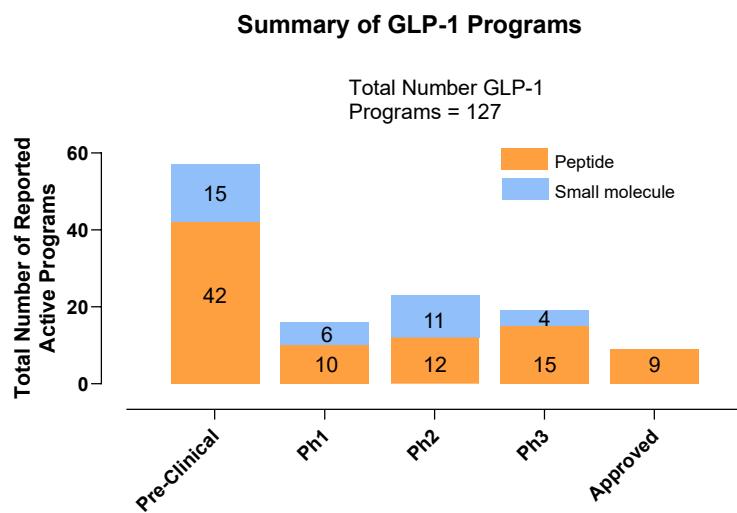
✓ 4

✓ 1

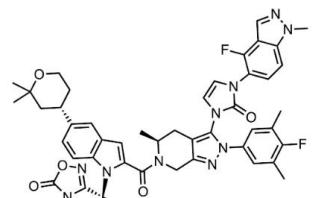


# NxWave™ プラットフォームにより既存製剤を超える肥満領域での拡大を目指す 新規経口GLP-1作動薬を主軸に、さらに6つの革新的なプログラムを推進

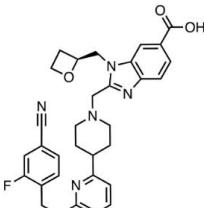
## 低分子の治療機会



## 2種のケモタイプが主戦場



**orforglipron**  
GLP-1R  
oral non-peptide GLP-1R partial agonist  
Ph. III for obesity + T2D  
from LLC-PK1 cell HTS + opt  
CHUGAI, SHIZUOKA, JP; ELI LILLY, INDIANAPOLIS, IN



**danuglipron**  
GLP-1R  
oral non-peptide GLP-1R full agonist  
Ph. IIb for obesity + Ph. II for T2D  
from sensitized cell HTS of 2.8M cmpds + opt  
PFIZER, CAMBRIDGE, MA

- 合成が複雑
- 安全性フラグ
- 製造コストが高い
- 肝毒性リスク

### GLP-1作動薬低分子の特許:

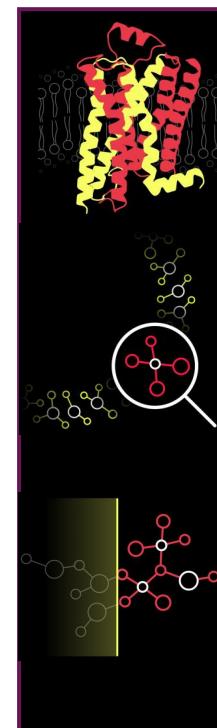
~20% Orfor-like

~80% Danu-like

## ネクセラの差別化アプローチ

### NxStaR™

- ✓ DNA encoded library screen (DEL)によるタンパク質安定化

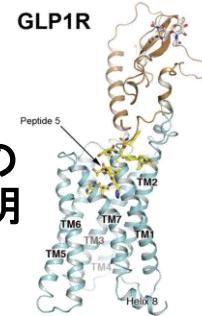


### NxHit™

- ✓ 独自の低分子化合物ライブラリ

### NxDesign™

- ✓ 世界で最初にGLP-1受容体の複合体構造解明



NxWave™ のSBDD創薬により次世代経口肥満薬を創製



# 前臨床段階の開発品：投資とパイプライン拡大における戦略

直近の海外での大型提携は経口薬による差別化可能性を如実に反映

## 経口GLP-1作動薬関連提携は数十億ドル規模

買収元	買収先	主要開発品 (前臨床)	日付	一時金	総額ディール
Madrigal Pharma	CSPC Pharma	GLP-1作動薬	2025年7月	\$120M	Up to \$2Bn
Novo	Septerna	Multiple including GLP-1作動薬	2025年5月	\$200M	Up to \$2.2Bn
Merck	Hansoh Pharma	GLP-1作動薬	2024年12月	\$112M	Up to \$1.9Bn

※経口GLP-1作動薬に関する過去8カ月間の取引を記載

## 経口薬による肥満関連領域に与えるインパクト

- ✓ **長期的な体重管理**: 注射剤に続く治療選択肢、容易な用量設定等の利便性
- ✓ **肥満に関連する重大な合併症を標的**: 心血管疾患、腎疾患、肝疾患や新たな適応症への治療効果の改善
- ✓ **副作用低減と治療が困難な患者への拡大**: 高齢者、閉経後女性、サルコペニアの方を対象にした治療薬
- ✓ **併用療法**: 高い安全性が不可欠

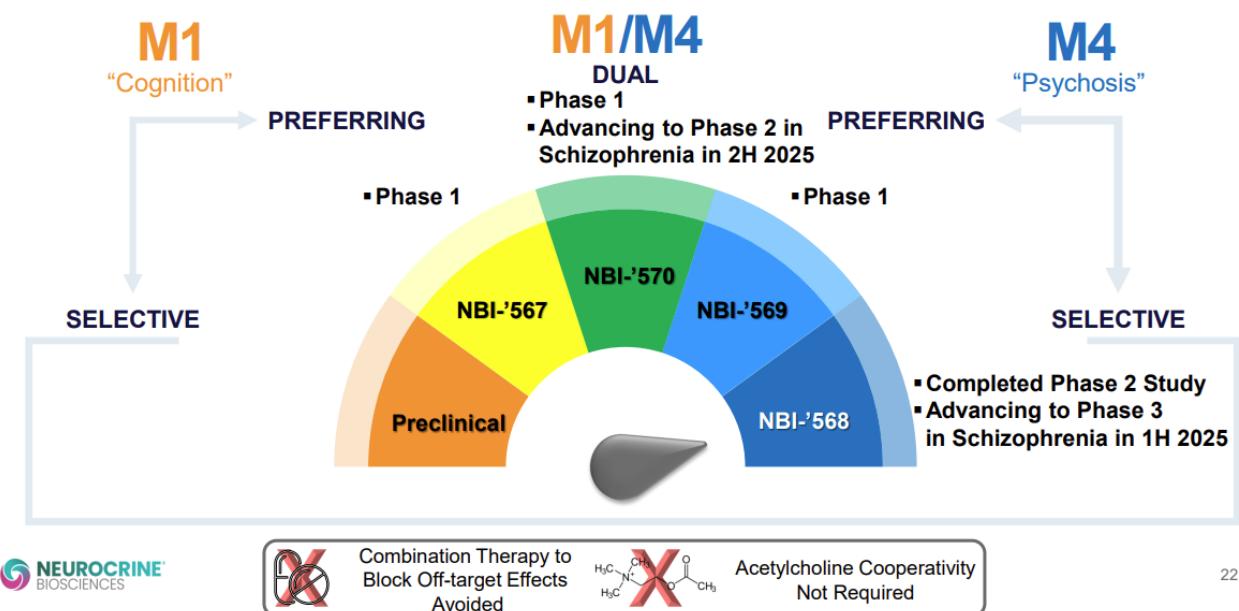
次世代肥満薬は経口投与可能かつ安全性の高い製品が重要、当社は開発を主導可能な体制が構築

# 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、2025年にも一部データが発表予定



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



製品名/ 開発コード	ターゲット	適応症	Phase1	Phase2	Phase3
NBI'568	M4 作動薬	統合失調症			2025年~
NBI'568	M4 作動薬	双極性障害			2025年2H~
NBI'570	M1/4 作動薬	統合失調症			2025年2H~
NBI'569	M4 作動薬	-			
NBI'567	M1 作動薬	-			

P1結果を  
25年に報告予定

M1とM4をカバーし、複数のアプローチで認知症状および精神症状を治療へ



# NBI-568のPh3試験を実施中 – 統合失調症に対する新規モダリティ

世界初かつ唯一の選択的M4オルソステリック作動薬のP3試験が進行中



## NBI-568のP3試験デザイン

Simple Trial Design Testing 20mg QD vs. Placebo with 1:1 Randomization  
Phase 3 Program Initiated in April 2025 with 2<sup>nd</sup> Phase 3 Program Initiating in Q3 2025



## 差別化ポイント

Type of Muscarinic Activation	Subtype Selectivity	Requires Endogenous Ligand (Acetylcholine)
Pan Agonism	Low Targets M1-M5	No
Positive Allosteric Modulation	High Targets only M4	Yes
Selective Agonism (NBI-568)	High Targets only M4 >500-Fold Agonist Selectivity for M4 Receptor Over Other Muscarinic Receptors	No

### NBI-568の大きな可能性 – 新規かつ差別化されたアセット



アセチルコリン濃度に依存しないNBI-568はM4受容体に対する最初かつ唯一の選択的オルソステリック作動薬であり、新規治療モダリティとなる可能性



食事の有無にかかわらない1日1回投与の利便性



NBI-568は魅力的な競争力のあるリスク・ベネフィットプロファイルを提供する可能性



NBI-568およびニューロクライン社の広範なムスカリンポートフォリオにおける適応拡大の機会に対する確信が強化

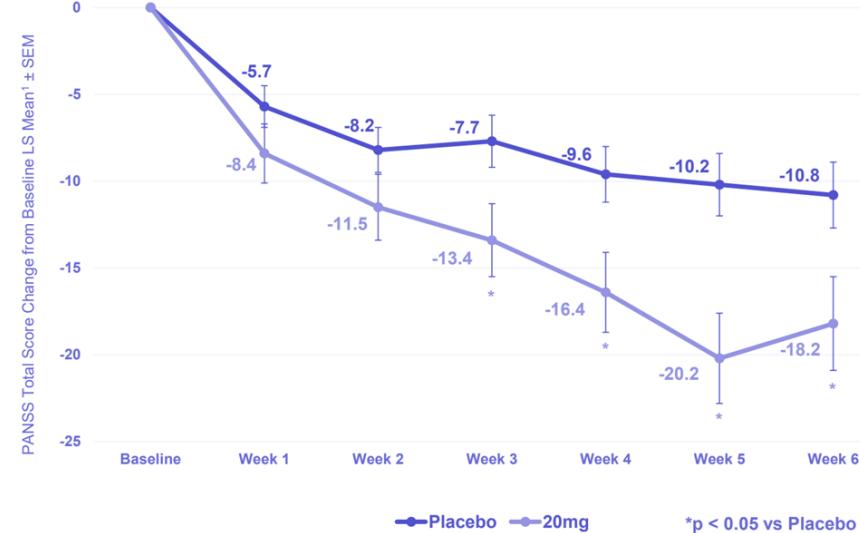
## 選択的オルソステリック効果による治療可能性の解明

# M4作動薬のフェーズ2試験トップライン結果

20mgで有効性を確認。プラセボとの比較で、PANSS、CGI-S共に統計的に有意な差

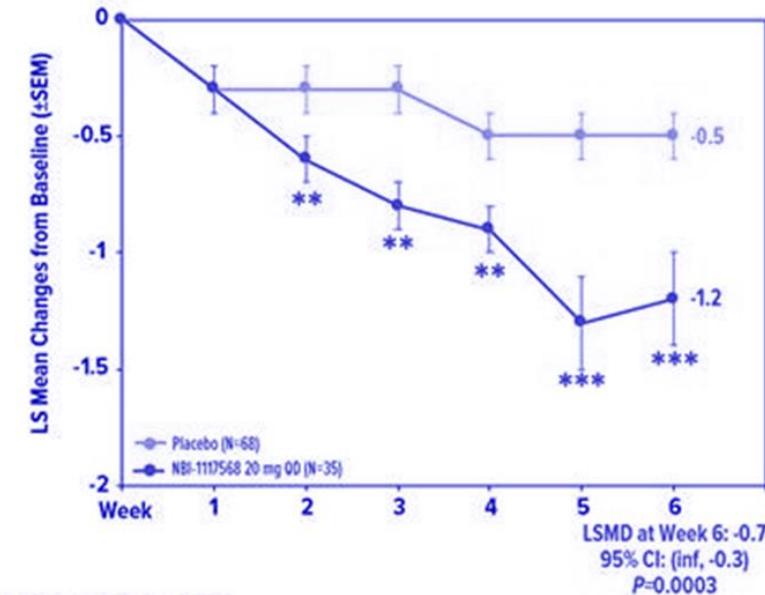


## Once-Daily 20mg Dose Demonstrated Clinically Meaningful and Statistically Significant Efficacy at Week 3, 4, 5, and 6



20mg QD Efficacy Data Week 4 – Week 6			
Week	4	5	6**
<b>PANSS Total Score</b>			
LS Mean <sup>1</sup>	-16.4	-20.2	-18.2
LS Mean Difference vs. Placebo <sup>1</sup>	-6.8 p = 0.008	-10.0 p < 0.001	-7.5 p = 0.011
Effect Size <sup>2</sup>	0.53	0.72	0.61

## B. Changes in CGI-S Score



\*P<0.05 \*\*P<0.01 \*\*\*P<0.001

LS means are from a MMRM, which includes treatment group, visit, and stage of randomization as fixed effects; treatment group-by-visit interaction; baseline score as covariate; and participant as a random effect. Cohen's d based on observed values.



“20mg投与群で、PANSSスコア、CGI-Sスコア共に一貫してプラセボとの統計的有意差が見られた、再現性のある反応が見え、データは強固だと考えている”



# 安全性:副作用リスク

消化器・心血管系の副作用の発生率は、Cobenfyはプラセボよりも多かったが、NBI-568はプラセボと同等程度

NBI-568

	Placebo N=70	20mg QD N=40	40mg QD N=39	60mg QD N=34	30mg BID N=27	All Treated N=140
Somnolence	2 (2.9)	5 (12.5)	2 (5.1)	7 (20.6)	1 (3.7)	15 (10.7)
Dizziness	1 (1.4)	5 (12.5)	3 (7.7)	4 (11.8)	1 (3.7)	13 (9.3)
Headache	14 (20.0)	1 (2.5)	5 (12.8)	1 (2.9)	5 (18.5)	12 (8.6)
★Nausea	2 (2.9)	2 (5.0)	3 (7.7)	3 (8.8)	0	8 (5.7)
★Constipation	2 (2.9)	2 (5.0)	3 (7.7)	1 (2.9)	1 (3.7)	7 (5.0)

Cobenfy

Table 3.6. Pooled Treatment-Related Adverse Events in EMERGENT trials<sup>20</sup>

Adverse Event, %	KarXT (n= 340)	Placebo (n= 343)
★Nausea	17.1%	3.2%
★Constipation	15.0%	5.2%
★Dyspepsia	12.1%	2.3%
★Vomiting	10.9%	0.9%
★Hypertension	5.9%	1.2%
Dry Mouth	5.0%	1.5%
Tachycardia	4.7%	2.0%

出所: Neurocrine社プレゼン2024/8/28、KarXT for Schizophrenia draft evidence report Nov. 28, 2023 ([https://icer.org/wp-content/uploads/2023/07/ICER\\_Schizophrenia\\_Draft\\_Report\\_For-Publication\\_112823.pdf](https://icer.org/wp-content/uploads/2023/07/ICER_Schizophrenia_Draft_Report_For-Publication_112823.pdf))



安全性			食事制限	服薬回数
消化器症状 (M2)	心血管症状 (M3)	その他		
★ プラセボ と同等	★ プラセボ と同等	傾眠 めまい	なし	1日1回
★ プラセボ比 で3-5倍 (10%以上の項 目が4つ)	★ プラセボ比 で約4倍 (5.9%で発生)	ドライマウス	あり (食前1時間又 は食後2時間)	1日2回 (トロスピウム の併用)

# オレキシン受容体2(OX2R)作動薬 提携先のCentessa社が開発中

ORX750、ORX142、ORX489はNT1、NT2、IH及び神経疾患対象に開発、PoC試験結果が2025年に報告される可能性

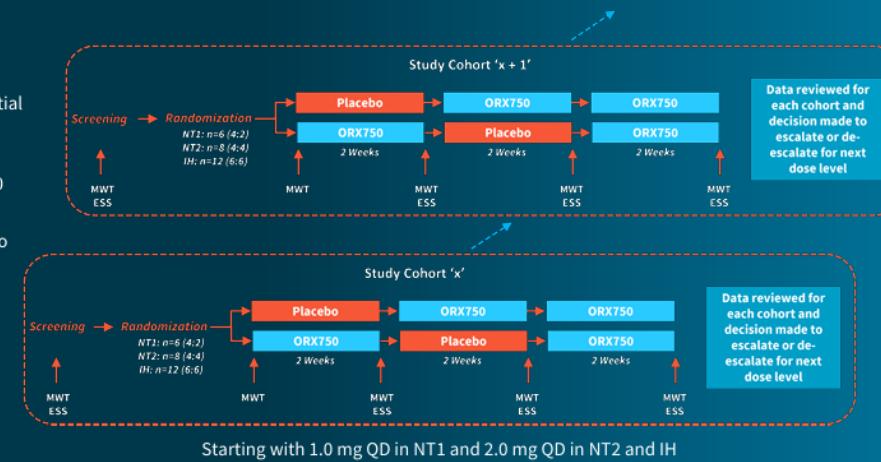


## PHASE 2a STUDY CRYSTAL-1

**Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Basket Study of ORX750 in Patients with NT1, NT2, and IH is Underway**  
**Data expected in all three indications in 2025**

### CRYSTAL-1 STUDY

- Innovative design with potential to enable **well-powered** and efficient data generation
- All patients to receive ORX750 for **at least 4 weeks**
- Optimal number of patients to allow **efficient recruitment**
- Potential for **optimized dose selection**



Note: Study design for illustrative purposes only.

17

**Positioned to be Potential Best-in-Class / First-in-Class in Emerging Category of OX2R Agonist Therapeutics**

- ORX750** for the treatment of **NT1, NT2 and IH**
- ORX142** for the treatment of **neurological and neurodegenerative disorders**
- ORX489** for the treatment of **neuropsychiatric disorders**
- Earlier stage OX2R agonists and therapeutics for additional potential indications

Molecule	hOX2R EC50 (nM)	Selectivity vs. hOX1R
Native ligand orexin-A (OXA) <sup>1</sup>	0.035	n/a
<b>ORX750<sup>1</sup></b>	<b>0.110</b>	<b>9,800x</b>
<b>ORX142<sup>2</sup></b>	<b>0.069</b>	<b>13,000x</b>
<b>ORX489<sup>3</sup></b>	<b>0.035</b>	<b>8,800x</b>

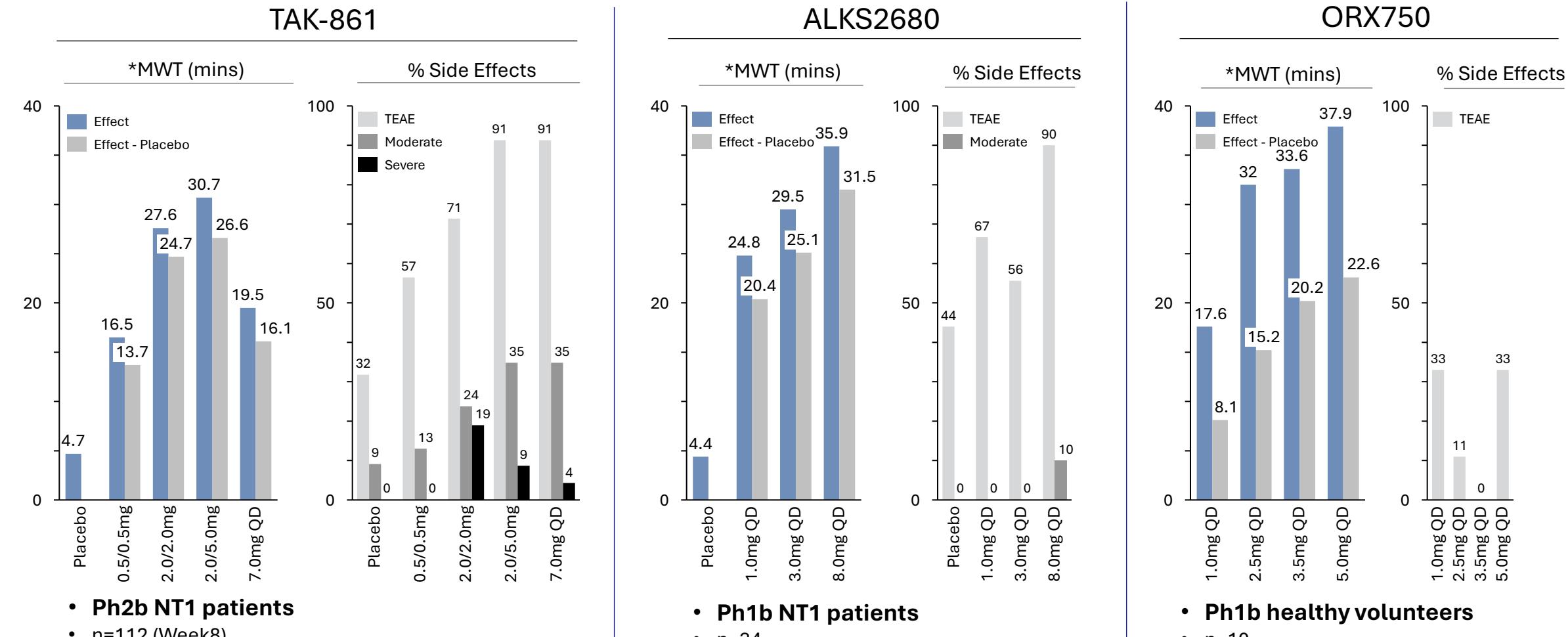
Fluorescent imaging plate reader (FLIPRI) assay with Chinese hamster ovary (CHO) cells stably expressing human recombinant OX1R or OX2R.  
1. Black et al., World Sleep 2023 Abstract. 2. Black et al., European Sleep Research Society 2024 Abstract. 3. Company data / presentations.

8

NxWave™プラットフォームにより複数アセットを創出:CNS領域の適応における商業的ポテンシャルが大きい

# OX2作動薬の競合データ整理

ORX750は安全性・有効性ともに良好な結果をP1b試験結果で報告



出所:N Engl J Med 2025;392:1905-1916, Alkermes社コーポレートプレゼンテーション資料、Centessa社コーポレートプレゼンテーション資料より当社作成  
注:TAK-861はNT1患者対象のP2b試験結果、ALKS-2680はNT1患者対象のP1試験結果、ORX750は健常人対象のP1試験結果から作成

# mGlu5 NAM TMP-301 Tempero Bio社が開発中

アルコール依存症とコカイン依存症の患者を対象とした2本の臨床試験が進行中



## 開発パイプライン



## ハイライト

- Tempero BioはシリーズBで70百万ドルの資金調達を実施(2025年3月24日)、本資金調達でTMP-301のフェーズ2試験以降の開発資金を確保
- アルコール依存症に対するフェーズ2試験、コカイン依存症に対するフェーズ1試験結果が2025年後半以降に報告予定
- コカイン依存症に対するフェーズ2試験を26年以降に開始予定

患者対象の2つの臨床結果が2025年後半以降に発表される可能性



# 臨床開発初期にある自社開発パイプライン

ライセンスに関する  
オプション権を保有



当社が創出



化合物

NXE-149 (P1b)

対象疾患

統合失調症

当社が創出



グローバル患者数

**2,400万人**

NXE-732 (P1)

当社が創出



作用機序

新規の選択的GPR52  
受容体作動薬

進行性固形がん

炎症性腸疾患

差別化

ファーストイクラス

**1,800万人**

PD-L1と併用する選択的EP4  
受容体拮抗薬

**1,000万人**

新規の選択的EP4  
受容体作動薬

ベストトイクラス

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す

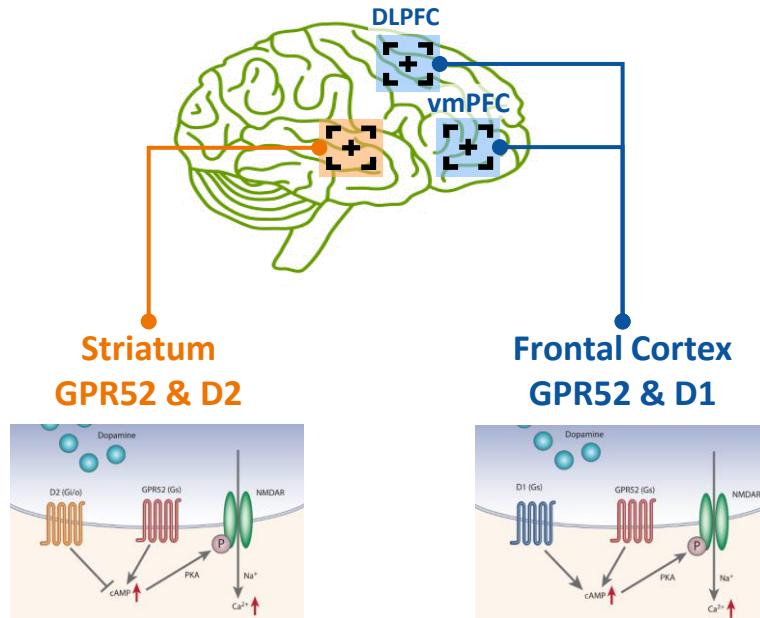


# GPR52 受容体作動薬- 統合失調症

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

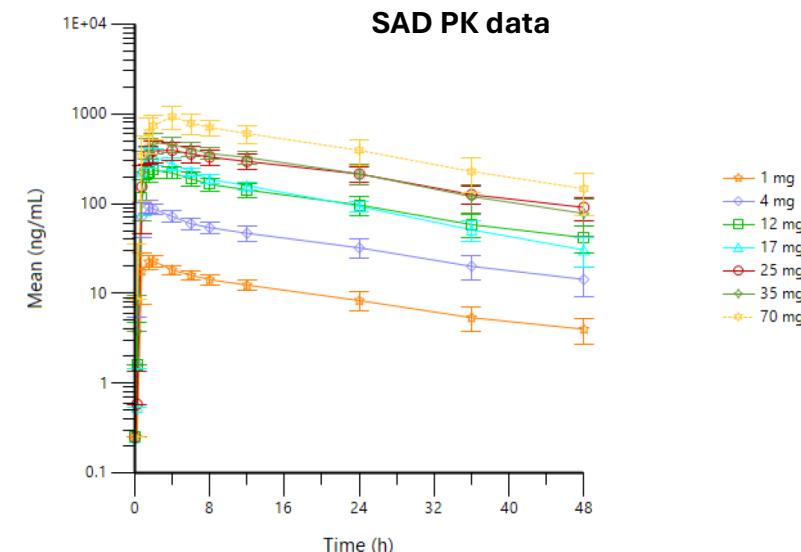
- GPR52は線条体のD2ドパミンニューロンに発現。活性化によりD2アンタゴニスト様作用をもたらし、幻覚などの陽性症状を改善する可能性
- GPR52は前頭葉のD1ドパミン受容体と共に局在。活性化によりD1アゴニスト様作用が発現し、注意力などの認知機能を改善する可能性



GPR52作動薬臨床試験詳細: <https://www.isrctn.com/ISRCTN17231793?q=&filters=&sort=&offset=58&totalResults=23608&page=6&pageSize=10>

## 進捗と今後の見込み

- **P1a試験は完了**
  - 薬力学的測定を含む試験
  - 薬物動態試験データは前臨床データからの予測と整合
  - 1日1回投与の想定とも整合
- **P1b試験が開始。2025年下半期に完了予定**
  - 作用機序の検証試験
  - 脳内のGPR52の活性化も検証

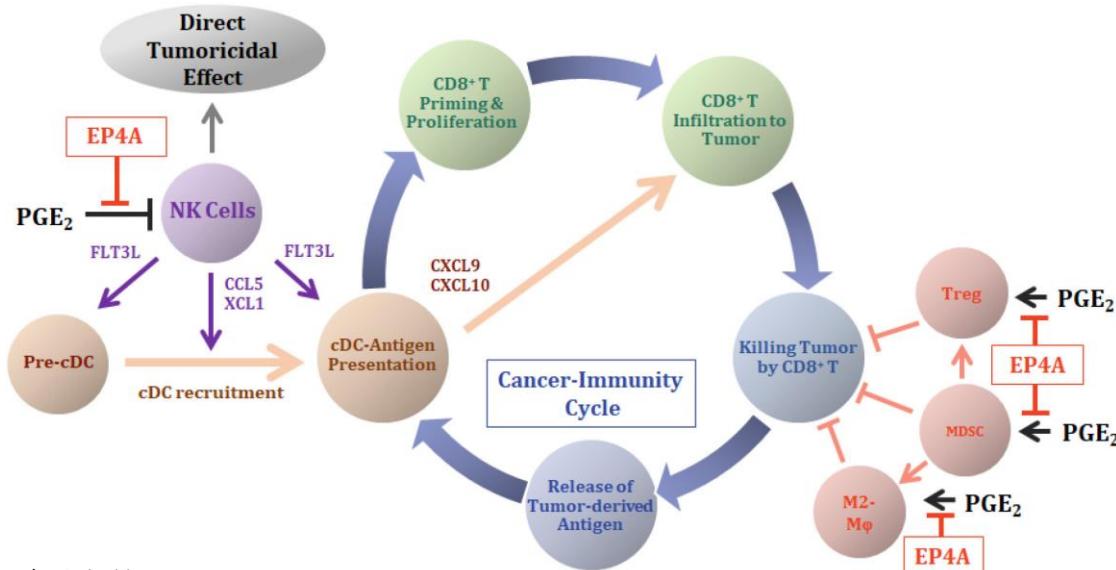


# EP4受容体拮抗薬 – 進行性固形がん

単剤もしくは免疫チェックポイント阻害剤(CPI)との併用で開発中

## 疾患メカニズムとの関連

- プロスタグランジンE2(PGE<sub>2</sub>)は腫瘍とその周辺組織から分泌され、EP4受容体を介してシグナルを送り免疫系を抑制
- EP4受容体拮抗薬により免疫監視機能が回復し、CPIの効果を高めることが期待される
- 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



## 進捗と今後の見込み

- P1試験の被験者登録が完了**
  - 単剤及びPD-L1との併用療法の用量漸増試験: 被験者登録が完了、P2試験での推奨用量を確認
  - 被験者に有益性が認められる限り、試験は継続される
- 現在までのP1試験データは良好**
  - 有害事象は主に軽度(グレード1-2)であり、投与を中断することなく回復
  - PKプロファイルは予測通りで、全ての用量レベルで概ね用量比例性を確認
  - 試験した全用量レベルで標的結合を確認、T細胞浸潤評価を含む追加の薬力学的解析が進行中
- P1試験結果はESMOで発表予定(2025年10月)**
- 英国でP2試験の被験者募集を実施中。4つの特定の腫瘍タイプを対象とし、PD-L1との併用療法に重点**



Platform

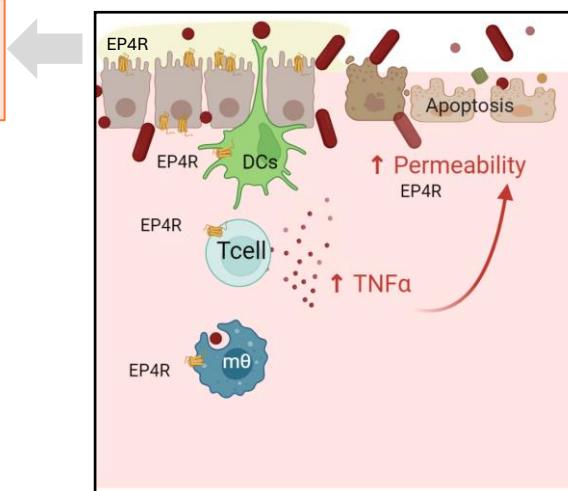
# EP4受容体作動薬 - 炎症性腸疾患(IBD)

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ていない
- 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を2025年9月に開始予定
- 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
- 新たな臨床データ及び標的結合データに関する意見を得るため、臨床アドバイザリーボードからの評価・助言を収集中

EP4 Ag Study Link:  
<https://www.isrctn.com/ISRCTN70080074?q=nxera&filters=&sort=&offset=1&totalResults=2&page=1&pageSize=10>

~

## 2025年の目標と将来のビジョン

CEO クリストファー・カーギル

05



## 2025年の主な目標

01

製品関連の売上高170億円以上(ピヴラツツ<sup>®</sup> + クービビック<sup>®</sup>)



02

日本とAPAC(中国を除く)市場向けに、  
1品目以上の後期開発品の取得もしくは導入



03

1つ以上の価値の高い提携契約の締結、  
自社によるフェーズ2試験を1つ以上開始



04

効率性、拡張性のためのシステム、  
アプリケーションへの投資を継続



05

IFRS基準で営業黒字を達成(GPR52作動薬のオプション行使時)

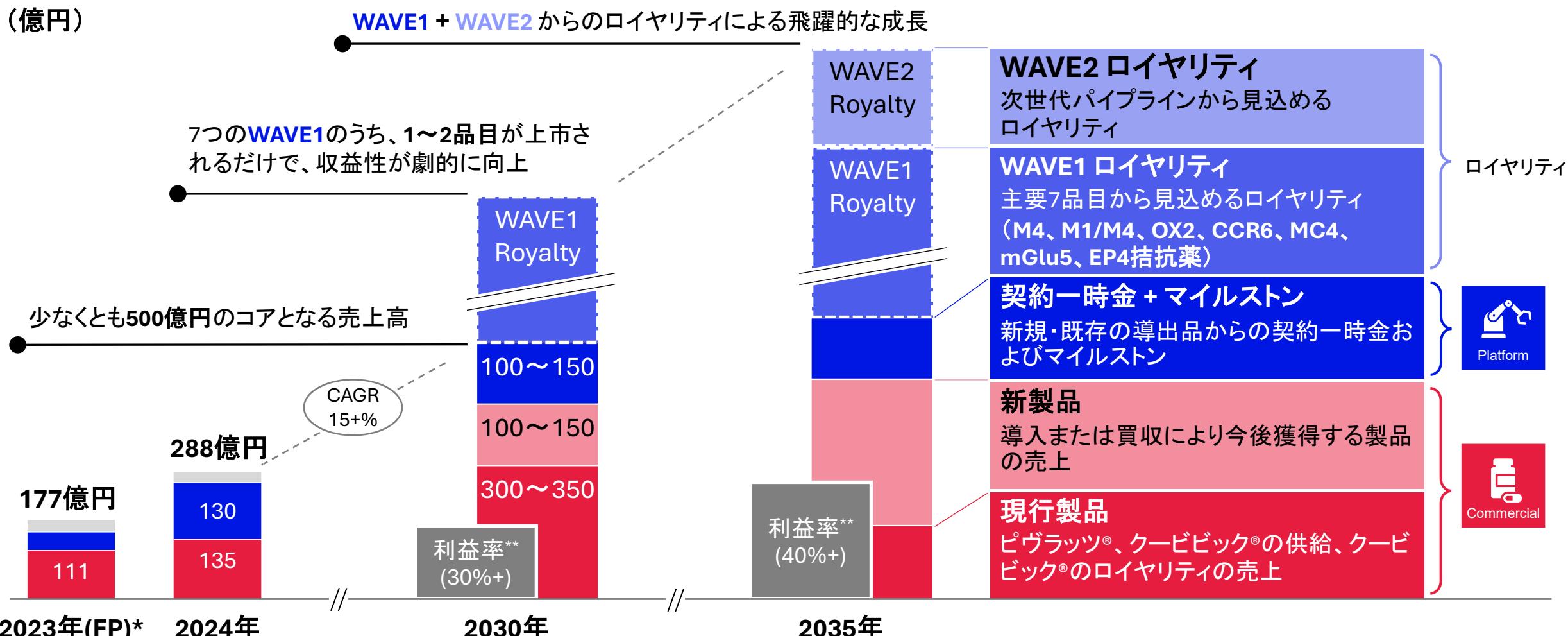


# パートナーが開発中のWave 1 & Wave 2は、市場規模の極めて大きな疾患領域を対象

	2030年の市場規模	WAVE1(2030年までに上市予定)	WAVE2(2035年までに上市予定)
神経疾患	18兆円 (1,200億ドル) 以上	 <b>TEMPERO BIO™</b>  <b>CENTESSA PHARMACEUTICALS</b> P2 mGlu5 NAM 物質使用障害    P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー   <b>NEUROCRINE BIOSCIENCES</b> P3 M4 作動薬 統合失調症 P2 M4 作動薬 双極性障害 P1 M4/M1 作動薬 統合失調症	 <b>CENTESSA PHARMACEUTICALS</b>  <b>NEUROCRINE BIOSCIENCES</b> 前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する睡眠障害 P1 M4 作動薬 P1 M1 作動薬 認知機能障害、精神疾患
代謝性疾患	23兆円 (1,500億ドル) 以上	 <b>Pfizer</b> P1 MC4 拮抗薬 低栄養	 <b>Lilly</b> 創薬 複数ターゲット 2型糖尿病 / 肥満症など
免疫・消化器	45兆円 (3,000億ドル) 以上	 <b>Pfizer</b>  <b>Nxerion</b>  <b>CANCER RESEARCH UK</b> P1 CCR6拮抗薬 炎症性腸疾患    P1 EP4拮抗薬+ PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法	 <b>Nxerion</b> P1 EP4 作動薬 炎症性腸疾患
最大1,700億円(ピーク時の合計ロイヤリティ)		数千億円のマイルストンおよびロイヤリティ収入	

# 2030年のビジョン: 高成長で高収益な日本のバイオ製薬企業を築く

(億円)





# 2025年に見込まれるイベント\*

: 2025年の進捗

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
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受容体作動薬)		2025年4月	統合失調症を対象としたフェーズ3試験開始
NXE'732(EP4受容体拮抗薬)	CANCER RESEARCH UK	2025年下期	進行性固形がんを対象としたフェーズ2a試験開始
NBI'568(M4受容体作動薬)		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'744(EP4受容体作動薬)		2025年下期	炎症性腸疾患を対象としたフェーズ2試験開始
NXE'149(GPR52受容体作動薬)	Boehringer Ingelheim	2025年下期	フェーズ1b試験完了
NXE'732(EP4受容体拮抗薬)	CANCER RESEARCH UK	2025年下期	フェーズ1b試験データ開示
ORX750(OX2受容体作動薬)		2025年下期	フェーズ2試験データ取得(NT1/NT2/特発性過眠症)
Lucerastat		2025年下期	オプション権行使の判断
TMP-301(mGlu5 NAM)		2025年末	アルコール依存症を対象としたフェーズ2試験結果
複数の創薬提携の進捗	Lilly	2025年6月(Lilly)	創薬段階における開発の進捗
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
クービック®		2025年2月	台湾における提携
新規グローバル導出・提携		随時	導出や創薬提携
Japan / APAC向け新規導入		随時	後期開発品の導入や買収
クービック®		随時	APACでの導出

下線は24/12期決算説明会資料からの変更箇所

\*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

~

# Questions?

~

補足資料

06



# 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
<b>提携</b>											
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 <sub>1</sub> 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
<strong>共同開発</strong>											
KY1051	CXCR4 mAb	モノクロナール抗体	がん免疫	sanofi	PHARMENABLE	precisionlife					
(Not disclosed)	AI-Augmented Drug Discovery	低分子	神経疾患/免疫疾患								
(Not disclosed)	Multi target	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患								
<strong>共同出資</strong>											
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						



# 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
<b>自社開発品</b>											
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 <sup>1</sup>	GPR52 作動薬	低分子	神経疾患	Boehringer Ingelheim							
NXE0039732 <sup>2</sup>	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							
<b>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)</b>											
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。



# 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	<a href="#">NCT05545111</a>	-
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-05-08	2027-10	2025-07-30	<a href="#">NCT06963034</a>	-
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-08	2027-11	2025-08-05	<a href="#">NCT07105098</a>	-
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	<a href="#">2023-508814-40-00</a>	-
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	27	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2025-07-01	<a href="#">NCT05549323</a>	<a href="#">NCT04388878</a> <a href="#">NCT07009353</a>
導出	PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	26	No	2024-12-11	2025-02-20	2025-03-07	<a href="#">NCT06706869</a>	<a href="#">NCT04628793</a> <a href="#">NCT05113940</a> <a href="#">NCT07086664</a>
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	アルコール依存症	Ph2	100	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2025-07-02	<a href="#">NCT06648655</a>	-
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	<a href="#">NCT06648668</a>	-
導出	ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	78	Yes	2024-12-23	2025-12	2025-06-04	<a href="#">NCT06752668</a>	<a href="#">NCT07096674</a>
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	2025-12-31	<a href="#">NCT07082829</a>	-
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	2025-06-19 2025-06-19	<a href="#">NCT05648500</a> <a href="#">NCT05672576</a>	<a href="#">NCT06475742</a>
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-06-07	2025-11-15	2024-11-05	<a href="#">ISRCTN44913564</a>	<a href="#">ISRCTN17231793</a>
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	150	Yes	2023-07-13	2027-06	2025-06-08	<a href="#">NCT05944237</a>	-
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	<a href="#">ISRCTN70080074</a>	-

\* 主要評価項目完了日(見込)



# 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 <sup>2</sup>	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 <sup>1</sup>	-	-	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 <sup>1</sup>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)<sup>2</sup> 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*	APAC地域 (中国を除く) <sup>1</sup>
	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*	

<sup>1</sup> 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

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、ドーパ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パ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

~

Thank you



BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS