



ログミーIR Live

2025年6月26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。

自己紹介

都築 伸弥(つづき しんや)

【略歴】

-2016 名古屋大学工学部
2016-2018 名古屋大学大学院工学研究科 修士課程修了。ウイルス学、構造生物学など
2018- みずほ証券株式会社 エクイティ調査部 バイオセクター アナリスト
2021- みずほ証券株式会社 エクイティ調査部 バイオセクター シニアアナリスト
2022- みずほ証券株式会社 エクイティ調査部 医薬品・バイオセクター シニアアナリスト
2025- ネクセラファーマ株式会社 IRヘッド(現職)

【ランキング】

日経ヴェリタスアナリストランキング 医薬品セクター 2025年3位(チーム合計得点で1位)
extel(Institutional Investor) バイオ・医薬品セクター 2025年4位

【その他】

AMED「医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)」専門委員(2021年～)
沖縄バイオアドバイザー(2022年～)



01 バイオセクター概要

02 当社の概要

03 今後の展望

04 Deep Dive

05 質疑応答

バイオセクター概要

01



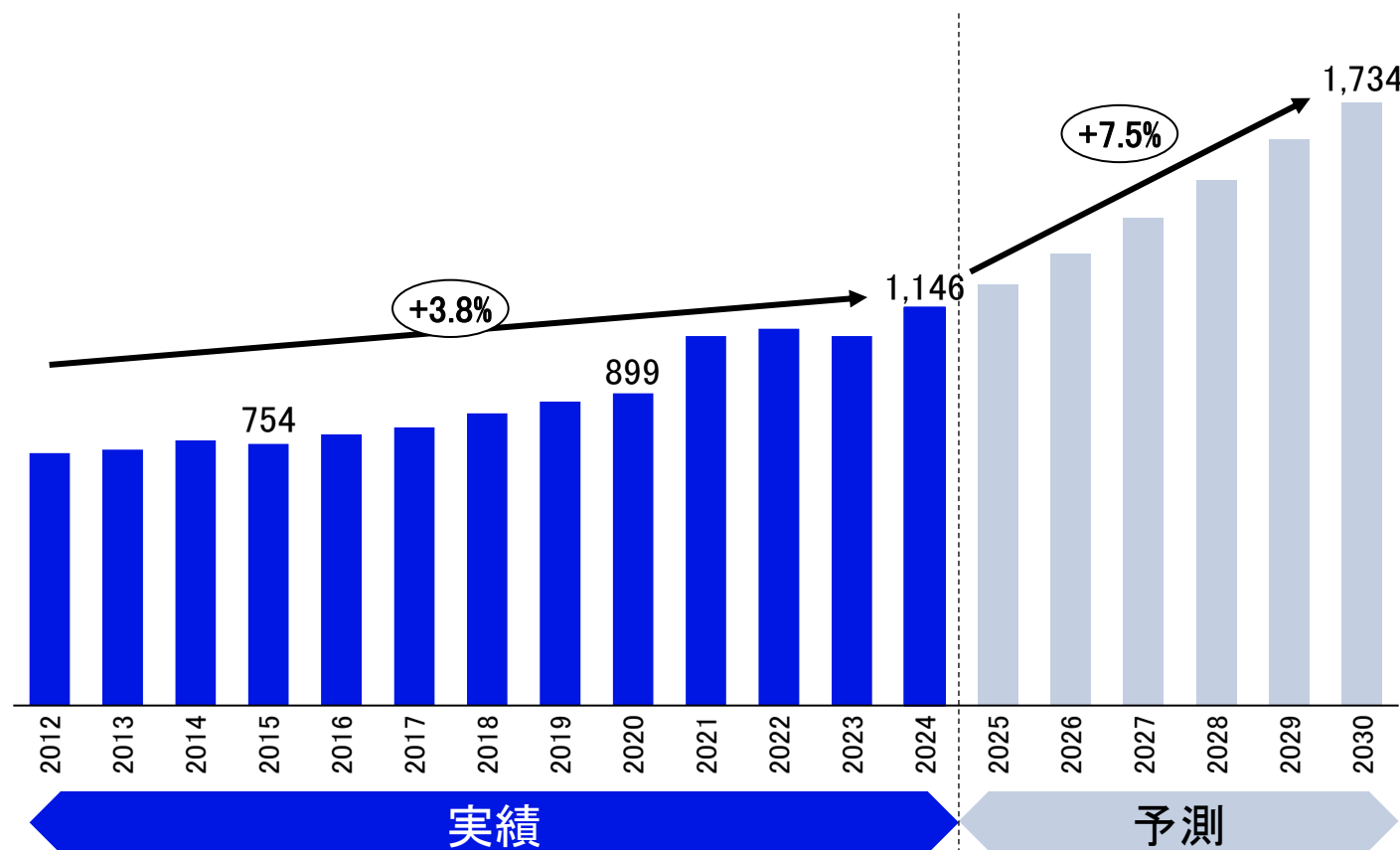
どのような市場か？

他の業種との比較は？

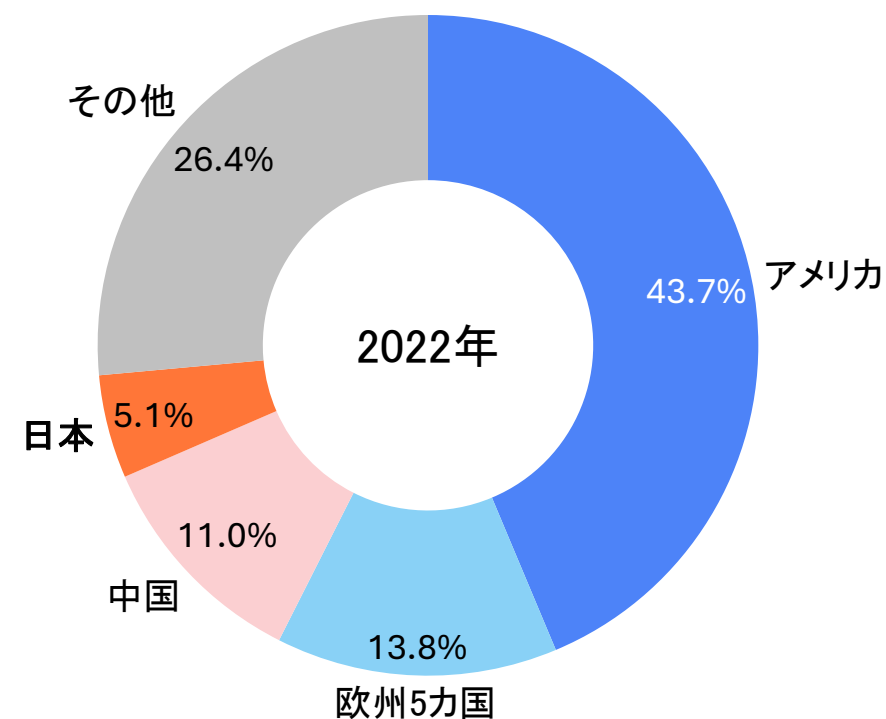
世界の医薬品市場

医療用医薬品市場は連続的に成長している。国別では日本は第3位の医薬品市場

医療用医薬品の市場規模推移(10億ドル)



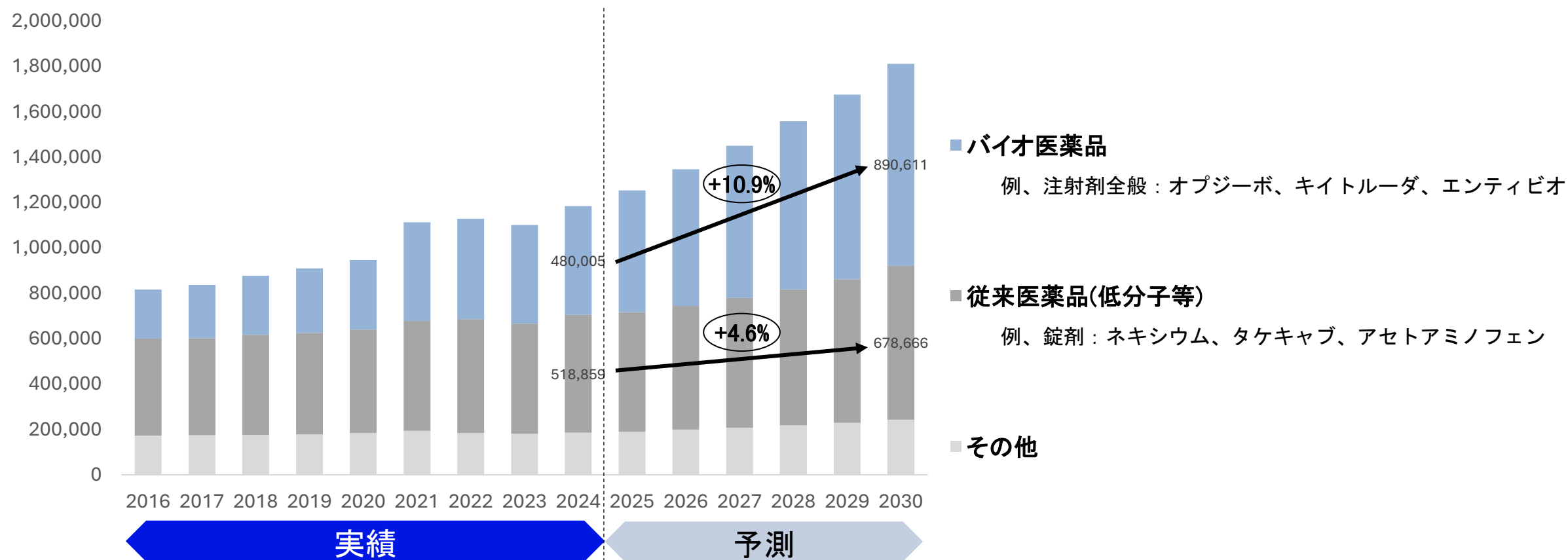
国・地域別市場規模



世界の医薬品市場

医薬品市場全体が成長するが、技術別ではバイオ医薬品が特に伸長する予測

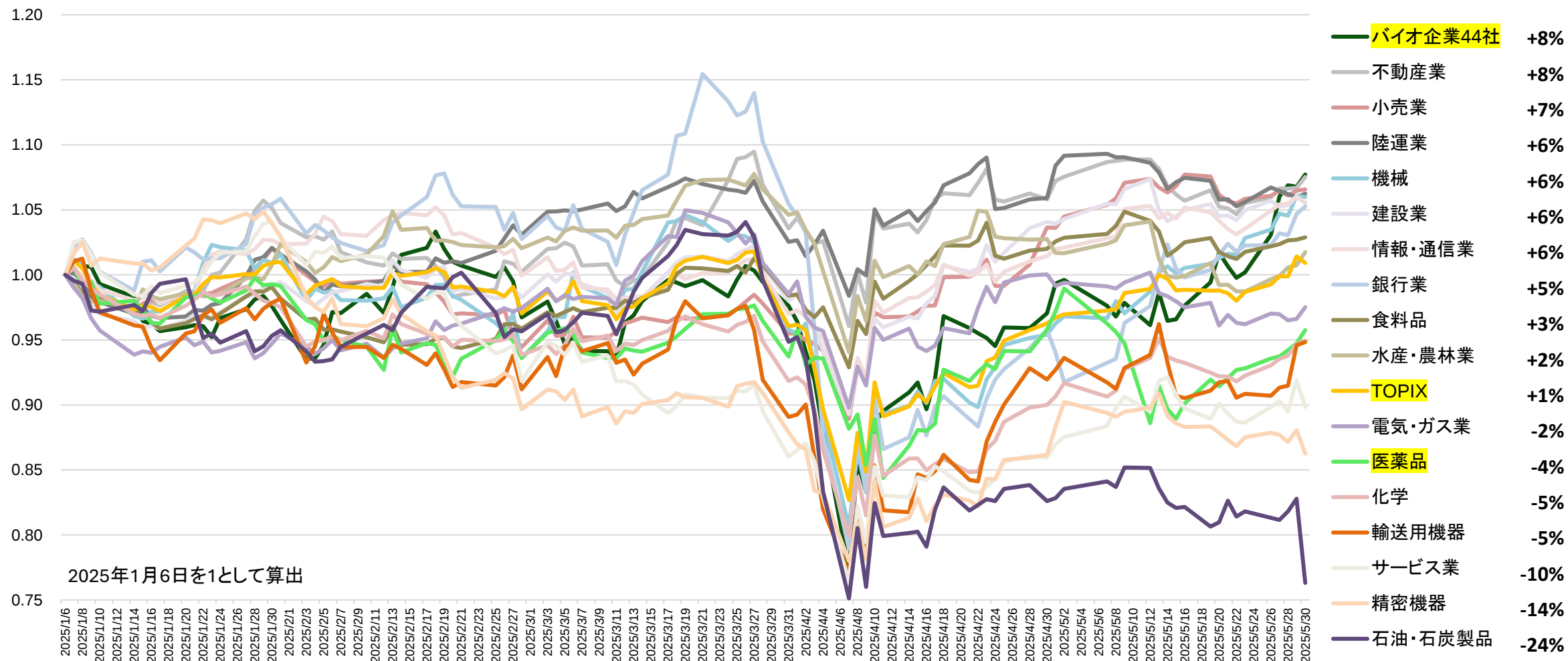
技術別の市場規模(百万米ドル)



出所: Evaluate Pharma (市場規模推移) より当社作成

国内のセクター別の市場パフォーマンス(短期)

トランプ大統領の政策方針で株価が大きく変動も、バイオセクターのパフォーマンスは悪くない



出所: Factset(2025年5月30日時点)より当社作成

国内のセクター別の市場パフォーマンス(長期)

5年間比較では、医薬品・バイオ共に厳しい環境

	直近比較 (25/04/30-25/05/30)	直近1年比較 (24/04/30-25/05/30)	直近5年比較 (20/04/30-25/05/30)
バイオセクター	11.0%	7.7%	-22.1%
TOPIX	4.8%	0.9%	60.4%
東証グロース市場250指数	11.6%	23.0%	33.7%
水産・農林業	-1.0%	1.7%	25.4%
鉱業	7.0%	-2.8%	83.2%
建設業	1.5%	5.6%	36.7%
食料品	0.9%	2.9%	23.5%
繊維製品	5.5%	-1.4%	23.8%
パルプ・紙	-2.0%	-0.5%	-15.9%
化学	5.5%	-5.1%	4.5%
医薬品	0.0%	-4.2%	-0.6%
石油・石炭製品	-7.6%	-23.7%	48.7%
ゴム製品	4.8%	13.0%	60.9%
ガラス・土石製品	2.8%	-6.2%	29.7%
鉄鋼	-1.6%	-4.4%	123.1%
非鉄金属	19.3%	7.4%	116.4%
金属製品	4.5%	0.3%	44.3%
機械	11.1%	6.0%	86.2%
電気機器	5.9%	-0.3%	89.5%
輸送用機器	3.1%	-5.2%	58.9%
精密機器	0.1%	-13.7%	27.0%
その他製品	0.7%	18.5%	101.7%
電気・ガス業	-2.5%	-2.5%	17.8%
陸運業	0.3%	6.2%	-11.2%
海運業	10.4%	-6.5%	642.0%
空運業	8.3%	7.9%	65.2%
倉庫・運輸関連業	16.3%	14.5%	44.3%
情報・通信業	4.0%	5.5%	28.5%
卸売業	6.4%	3.5%	141.0%
小売業	2.8%	6.6%	62.0%
銀行業	9.9%	5.3%	180.3%
証券・商品先物取引業	10.2%	-2.7%	74.6%
保険業	5.5%	4.9%	151.0%
その他金融業	5.1%	-6.4%	64.4%
不動産業	1.6%	7.5%	41.0%
サービス業	4.5%	-10.2%	41.3%

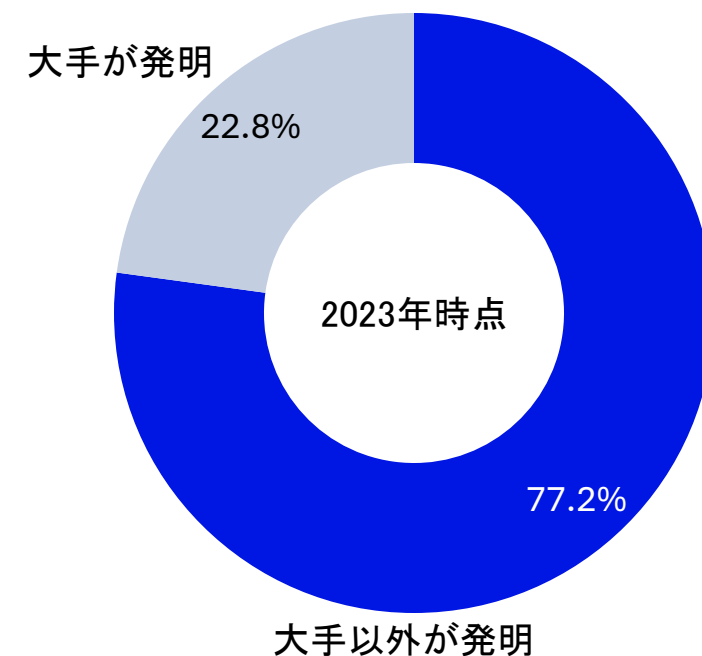
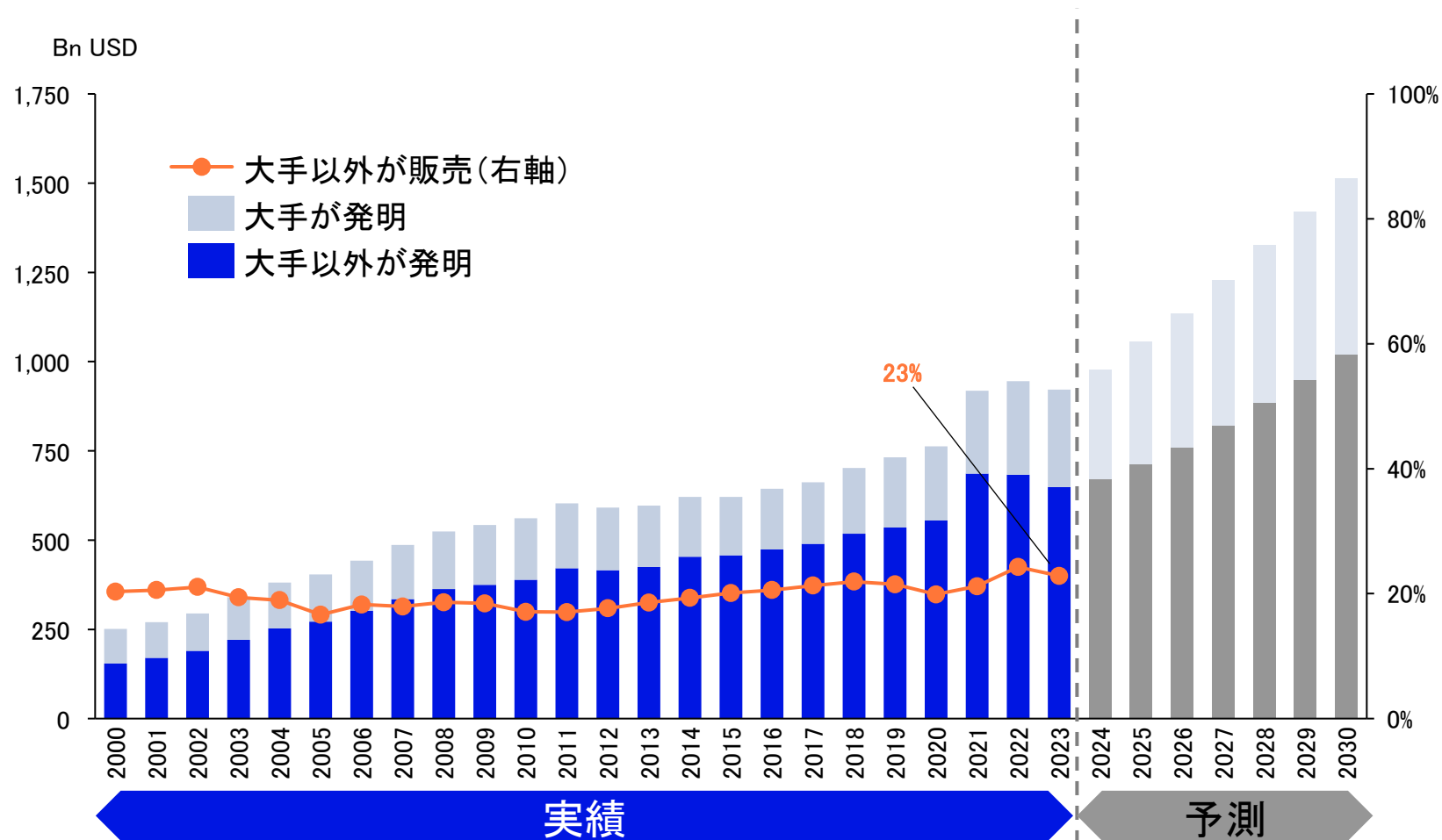
出所: Factset(2025年5月30日時点)より当社作成



薬は誰が発明しているのか？

バイオ企業が薬の7割を発明している

実際に、市場で販売される医薬品の7割以上が、元は大手以外の企業(≒バイオ企業)が発明したもの



*大手はEvaluate社の企業の定義で”Global Majors (Pharma)”,”Regional Major (Pharma)”,”Generic”を合算
出所: Evaluate Pharmaより当社作成

外部イノベーションの活用例

製薬業界は自社だけで完結できず、外部のイノベーションを活用。大型製品化しているものも多数存在。

現在の販売元と創出元が異なる主要製品

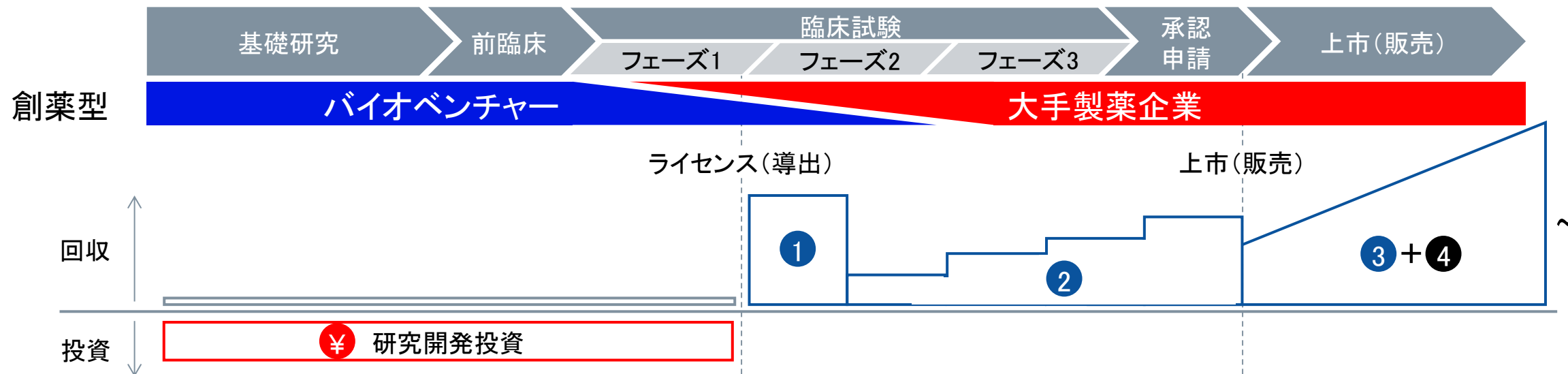
医薬品	売上 (2023)	創出元	現在の販売元	適応症	創出元、販売元が異なる理由
キイトルーダ	241 億ドル	Schering-Plough	Merck	がん（肺がん、メラノーマなど）	買収 (Schering-Plough by Merck)
エリキュース	100 億ドル	Bristol-Myers Squibb	Pfizer	血栓塞栓症など	提携（共同開発・販売）
レブラミド	61億ドル	Celgene	BMS	多発性骨髄腫など	買収 (Celgene by BMS)
オブジーボ	93 億ドル	Medarex	BMS	がん（肺がん、メラノーマなど）	買収 (Medarex by BMS)
スキリージ	78 億ドル	Boehringer Ingelheim	AbbVie	乾癬、クローン病など	導入
イムブルビカ	61 億ドル	Pharmacyclics	AbbVie & Janssen	慢性リンパ性白血病など	買収 (Pharmacyclics by AbbVie)
イクスタンジ	53 億ドル	Medivation	Pfizer	前立腺がん	買収 (Medivation by Pfizer)
アイリーア	96 億ドル	Regeneron	Bayer & Regeneron	黄斑変性症	提携（共同開発）
Praluent	27 億ドル	Regeneron	Sanofi	高コレステロール血症	提携（共同開発・販売）
アービタックス	18 億ドル	ImClone Systems	Eli Lilly & Merck	頭頸部がんなど	買収 (ImClone by Eli Lilly)



バイオ企業はどのように収益を上げているのか？

バイオベンチャーと大手製薬のビジネスモデル

バイオベンチャーのプラットフォーム型の収入源は主に4つ

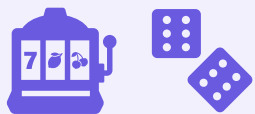


① 契約一時金	ライセンス時に受領する収入	(契約時に決まった金額)	} 総額 マイルストーン } ディール 総額
② 開発マイルストーン	ライセンス後、研究開発の進展に応じて得られる収入	(契約時に決まった金額)	
③ 販売マイルストーン	ライセンス後、一定の売上げに達した際に得られる収入	(契約時に決まった金額)	
④ ロイヤリティ	ライセンス後、製品の売上高に応じて得られる収入	(契約時に決まった売上高の一定%)	
十 研究開発支援金	ライセンス後、ベンチャーが研究開発を請け負う際の収入	(契約時に決まった時間単価等)	

バイオ企業とバイオ医薬品企業のギャップ

バイオ企業とバイオ医薬品企業は大きなギャップがあるため、変革は簡単ではない

“バイオ企業”



- 売上はない(もしくは大きく変動)
- 利益は少ない(もしくは赤字)
- パイプラインの価値のみで評価
- 開発の成否に依存(=確率論)

“バイオ医薬品企業”



- 着実な製品売上
- 高い収益性
- 収益性とパイプライン価値双方で評価
- 着実な投資



大きな谷
(ビジネスモデルのギャップ)



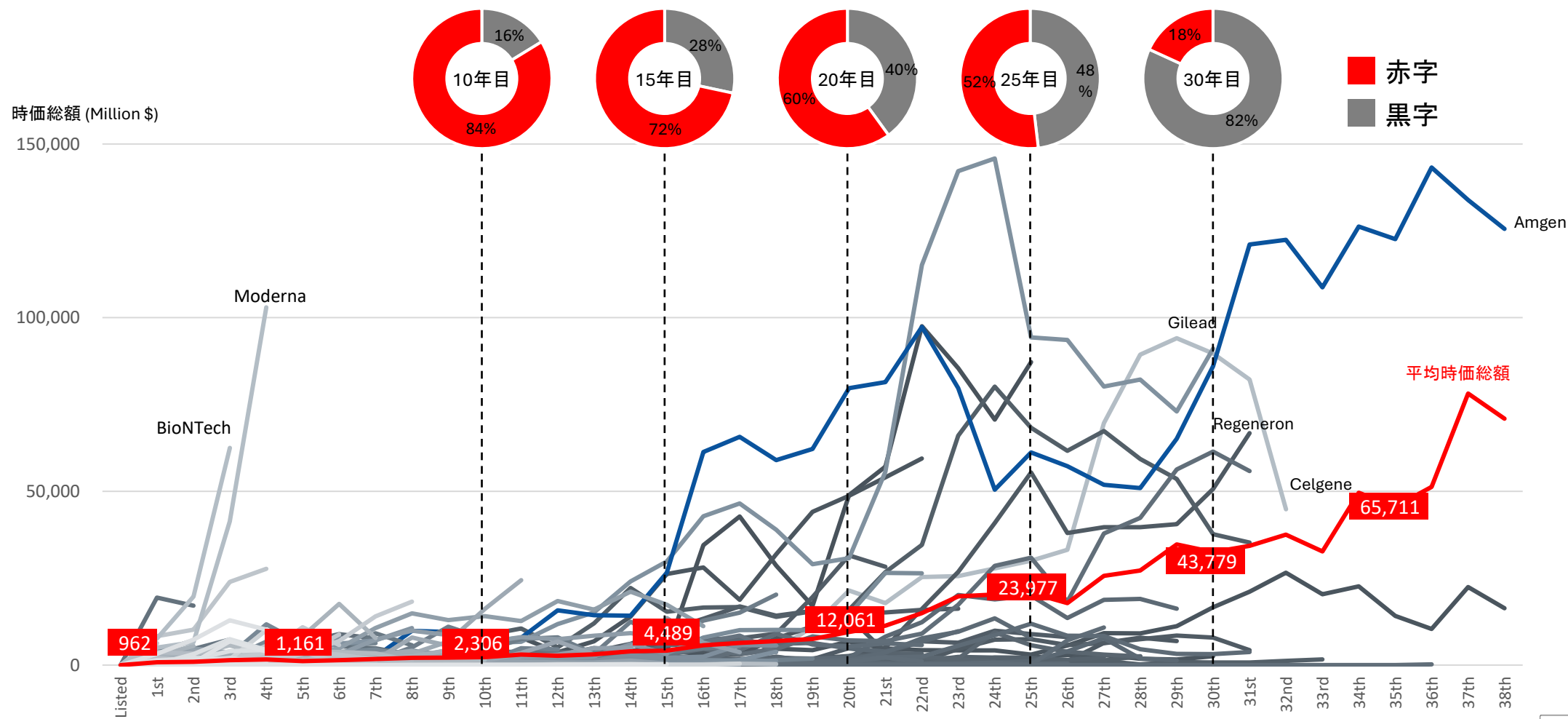
巨額の資金を投じ、リスクを取って成長
(Vertex, Amgen, Gilead等)



ここ数十年、この谷を越え大きく成長した企業はいない

米国バイオ企業の上場後の時価総額の推移と赤字期間

米国のバイオ企業は上場後も基本的には赤字



出所: Factsetより作成

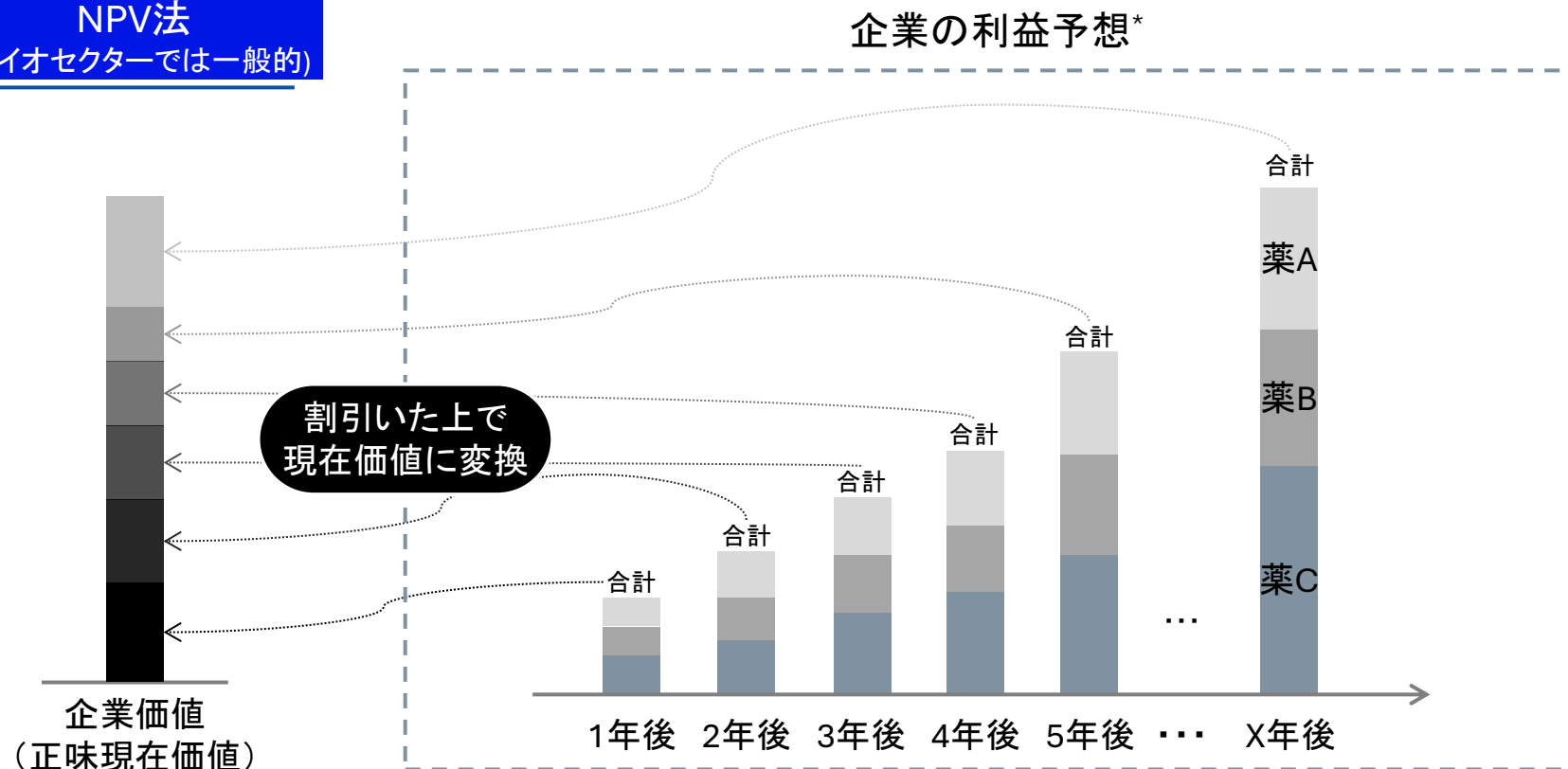


バイオ企業をどう評価したらよいのか？

バイオ企業の企業評価方法例

将来のキャッシュフロー/利益をもとに現在の価値を計算

NPV法
(バイオセクターでは一般的)



企業価値は結局、「どのくらいの売上の薬が」「どのくらいの確率で成功するか」に左右されるケースが多い

当社の概要

02

ネクセラファーマの概要

最先端の技術を駆使した革新的な医薬品により、患者さまの人生をより良くしていく

事業概要

280億円

年間収益

350億円

手元現金

400名以上

グローバル拠点
5カ所の従業員数

4565 (コード)

東京証券取引所
プライム市場

6%超

日本の政府系ファンド
による長期保有

製品とプログラム

上市済製品

3

日本

1

グローバル
(提携)

臨床段階 (グローバル)

13

提携プログラム

3

自社開発プログラム

創薬段階

20以上

自社開発または
提携プログラム

重点疾患分野とサイエンス

市場規模

18兆円以上

精神神経疾患

23兆円以上

代謝性疾患

45兆円以上

免疫疾患/
消化器系疾患

100個以上

「NxWave™」
プラットフォームによる
構造解析数

1,500件

取得特許数

日本発の新しいバイオフィーマを目指す

グローバルの創薬拠点



研究と初期臨床開発

- ・ クライオ電顕でのノーベル賞受賞者が創業
- ・ 独自のNxStaR™およびNxWave™
- ・ 構造ベース創薬プラットフォーム

テクニカルオペレーション

- ・ グローバルCMCオペレーション
- ・ サプライチェーン
- ・ 品質管理

約200名の従業員



日本のオペレーションチーム



約200名の従業員

医薬品開発と商業化

- ・ グローバルでの経験を有するバイリンガル経営陣
- ・ アジャイルかつテクノロジーを駆使するチーム
- ・ 戦略的な商業化アプローチ



基盤技術や良質な人材へのアクセスを生かしグループ全体のビジネスを推進

当社の歩み

過去20年で複数の戦略を実行。2024年からはネクセラファーマとして新たな一歩を踏み出す

2000年代	2015年	2023年	2024年
日本にイノベーションを届けることを目的とした会社を設立 ✓ 2004年に東証マザーズ（現東証グロース）にIPO 画期的な医薬品により、継続的な収益を生み出す企業を買収 ✓ 2005年にアラキス社を186百万ドルで買収 ✓ 2012年からはシーブリー、ウルティブロ、エナジアから安定的なロイヤリティを得る	創出した新薬の開発・商業化権利をグローバル製薬企業に売却することで、利益と市場評価を高める ✓ 15以上（現在も増加中）の提携プログラムにより、契約一時金・マイルストーン収益に加え、将来的にはロイヤリティ収入も期待できる 新薬パイプラインを持続的に創出できる研究特化型の企業を買収 ✓ 2015年にヘプタレス社を400百万ドルで買収	上位市場への上場を行い、多くの大規模投資を行う機関投資家への露出を高める ✓ 2023年に東証プライム市場へ上場 ✓ 産業革新投資機構（JIC）傘下のファンドから、上場ヘルスケア企業初の出資を受ける 上市品を有する製薬企業を買収。フルセットのバイオ医薬品企業となり、さらなる持続的な収益成長を目指す ✓ 2023年にイドルシアファーマシューティカルズジャパン、Idorsia Pharmaceuticals Koreaを466百万ドル（約650億円）で買収 ✓ ピヴラッツ®の売上げが急速に拡大	 新しいコーポレートブランドを発表： ネクセラファーマ 医薬品の次の時代におけるリーダーとなる 日本から 日本そして世界へ



我々のビジョン

日本発の国際的なリーディングバイオ医薬品企業を目指す

Vision | 日本から世界にイノベーションを届け、日本発の国際的なリーディングバイオ医薬品企業となる



社名
ネクセラ
(Nxera)



HP

「Next(次の)」
「Era(時代)」

「ネクセラの“N”」
「タンパクの構造」

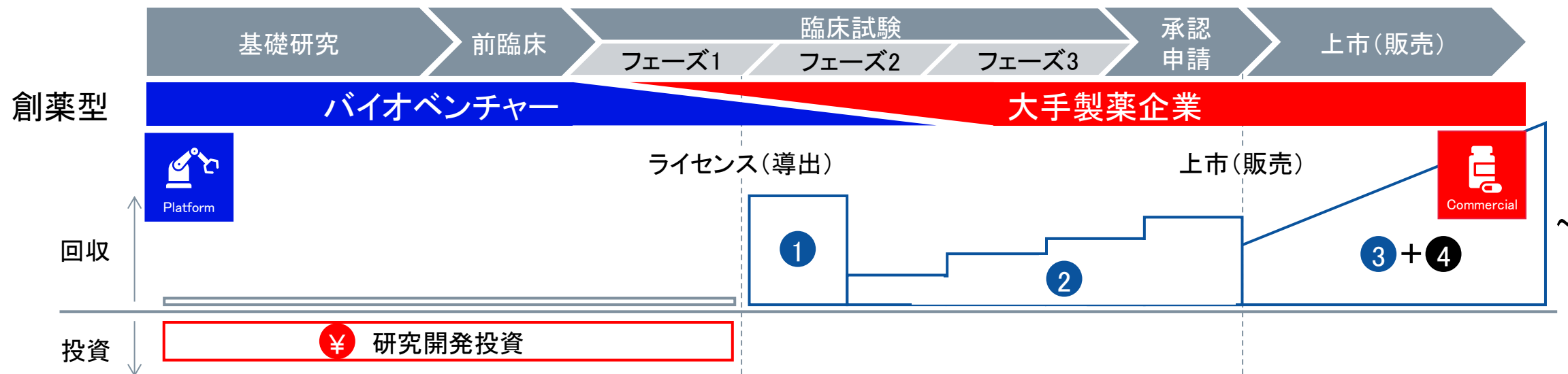
<https://www.nxera.life/jp>



ネクセラファーマはどのように収益を上げているのか？

バイオベンチャーと大手製薬のビジネスモデル

ネクセラファーマはバイオベンチャー、大手製薬の両面を目指す



① 契約一時金	ライセンス時に受領する収入	(契約時に決まった金額)	} 総額 } マイルストーン } ディール } 総額
② 開発マイルストーン	ライセンス後、研究開発の進展に応じて得られる収入	(契約時に決まった金額)	
③ 販売マイルストーン	ライセンス後、一定の売上げに達した際に得られる収入	(契約時に決まった金額)	
④ ロイヤリティ	ライセンス後、製品の売上高に応じて得られる収入	(契約時に決まった売上高の一定%)	
十 研究開発支援金	ライセンス後、ベンチャーが研究開発を請け負う際の収入	(契約時に決まった時間単価等)	

2つのビジネスモデル

バイオ企業のビジネスモデルはリスク・リターンの特性の違う、パイプライン型とプラットフォーム型に分けて考えられる

バイオベンチャーの主なビジネスモデル

プラットフォーム型



パイプライン型



概要

他社にライセンス

自社で販売

収益源

マイルストーン+ロイヤリティ

製品販売

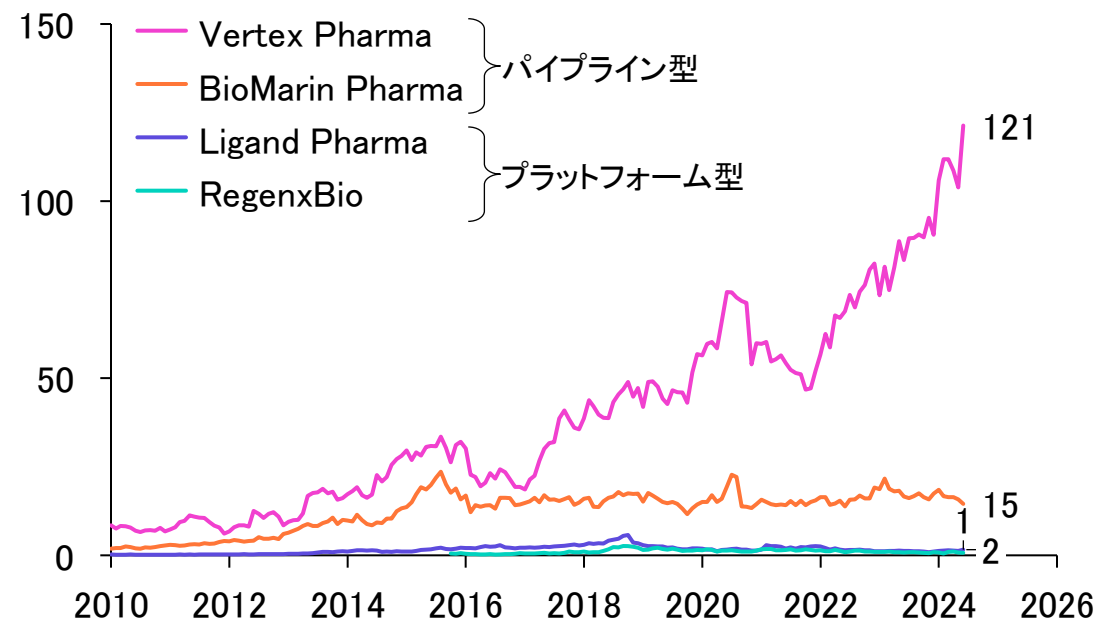
開発コスト

導出後は導出先負担

自社負担

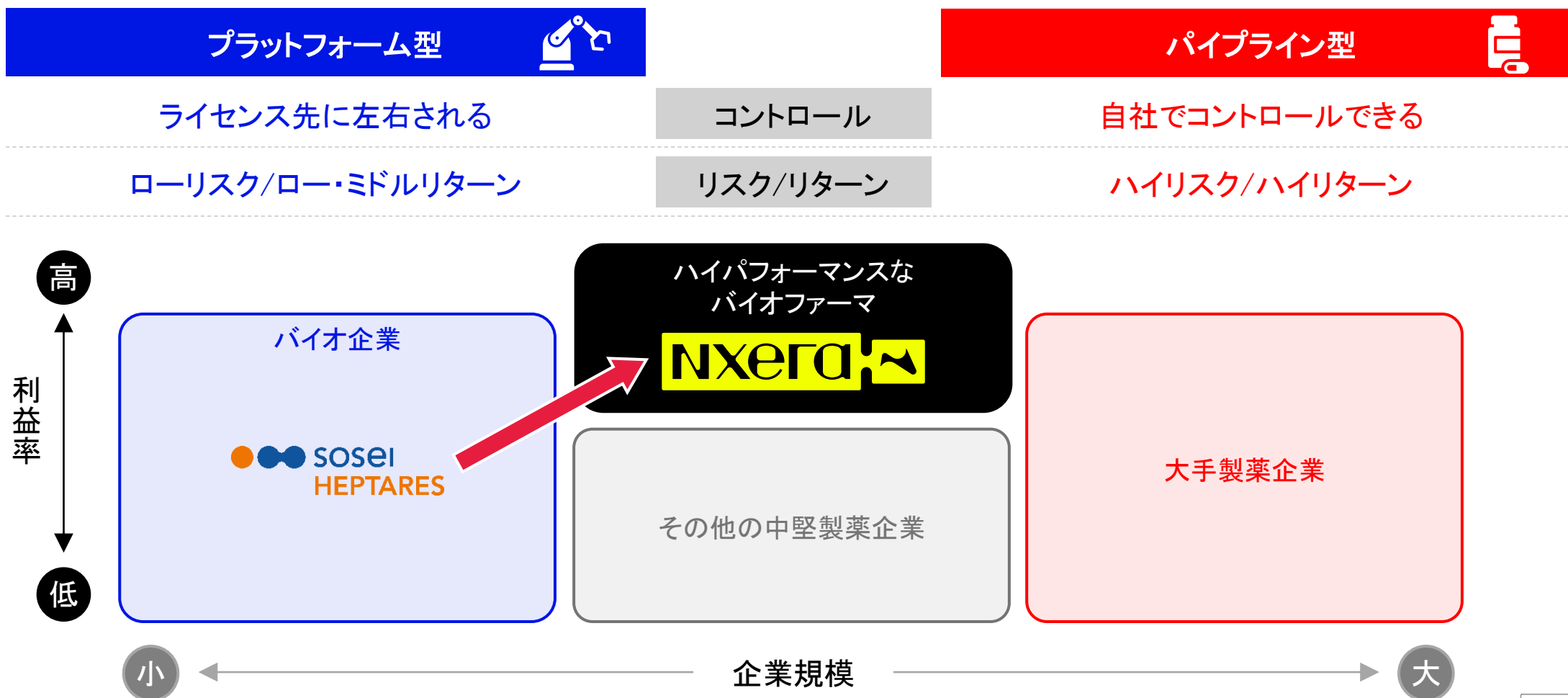
成功時の評価

時価総額
(十億ドル)



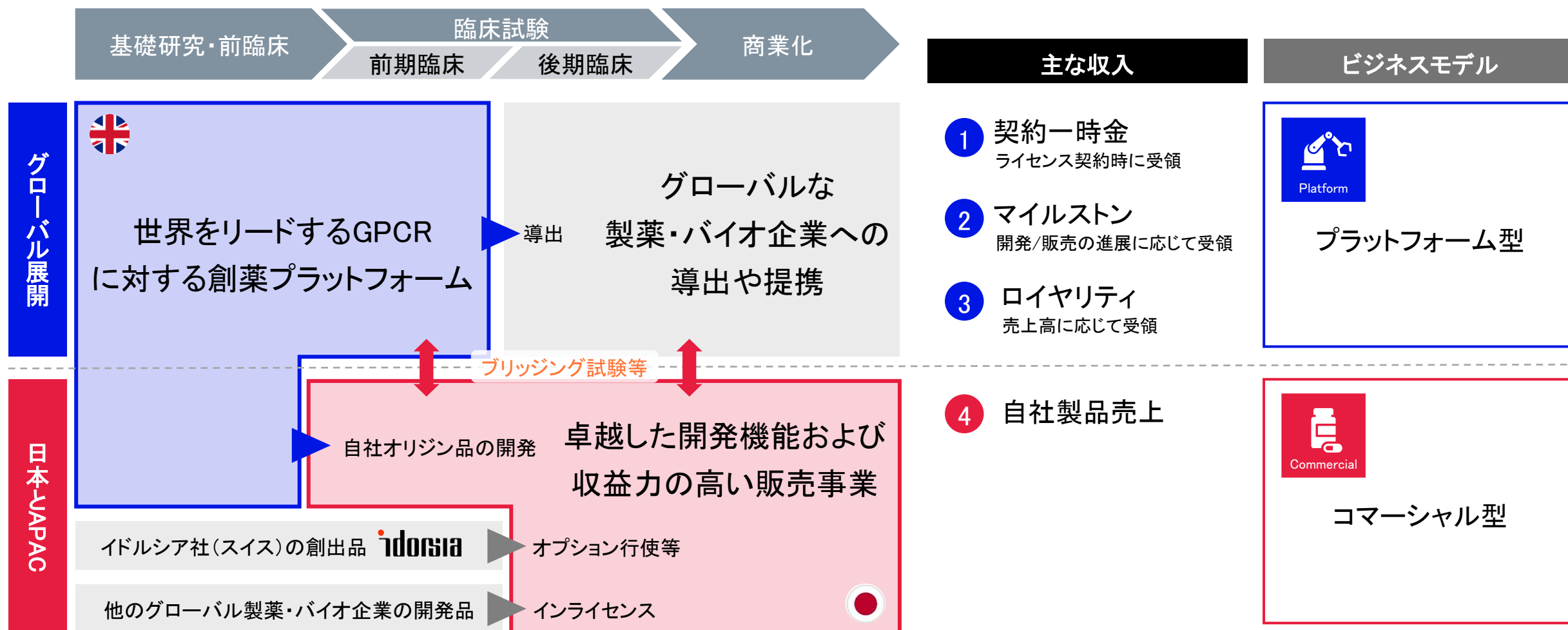
ネクセラの目指すポジション

ライセンス先の影響が大きいバイオ企業から脱皮、2つのビジネスモデルを併せ持つ、高収益なバイオフーマを目指す



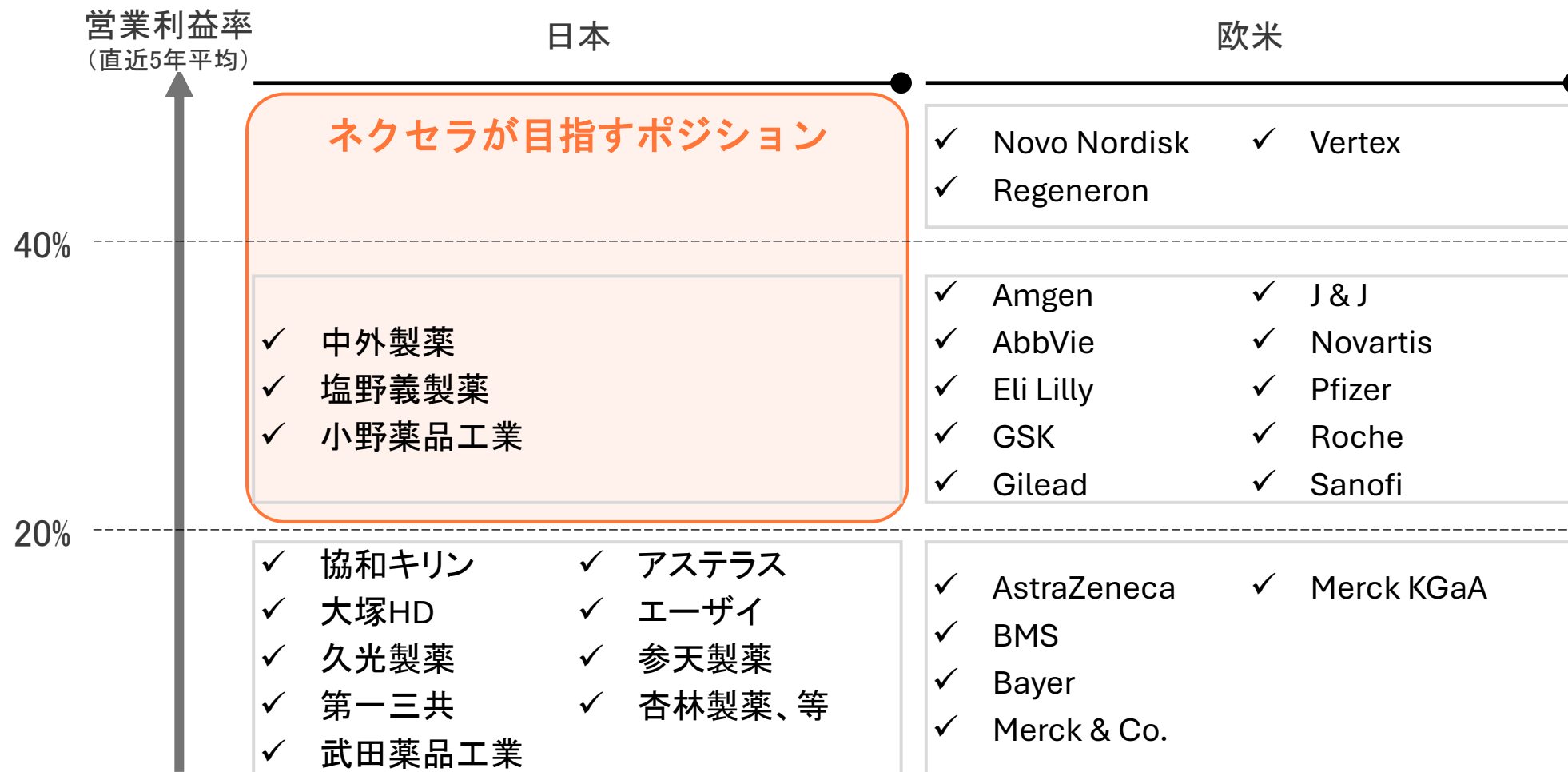
フルセットの機能を備えた日本発のバイオフーマを構築

日英の事業基盤を最大限活用しつつ、当社のミッションをいち早く達成すべく成長を加速させる



日本と欧米企業の収益性

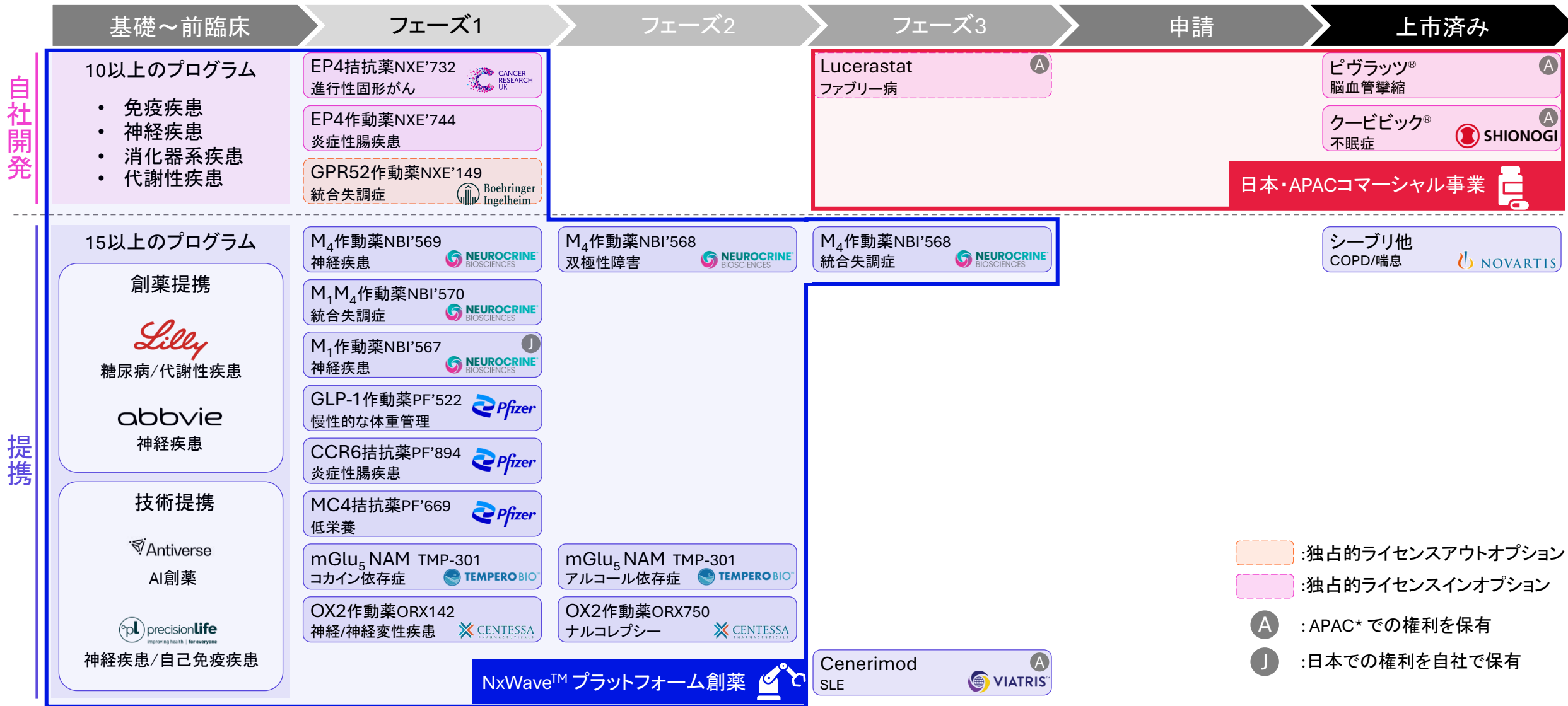
具体的には、欧米の製薬企業並みの営業利益率を目指す



出所: 各種二次情報

注: 一部企業はOTC事業や消費財事業など、医療用医薬品以外のセグメントが入っていることに留意。また、20%以下、20-40%、40%以上の各セグメントにおける記載順は営業利益率の順番とは合致しない

主なパイプライン(事業カテゴリー別)



 :独占的ライセンスアウトオプション

 :独占的ライセンスインオプション

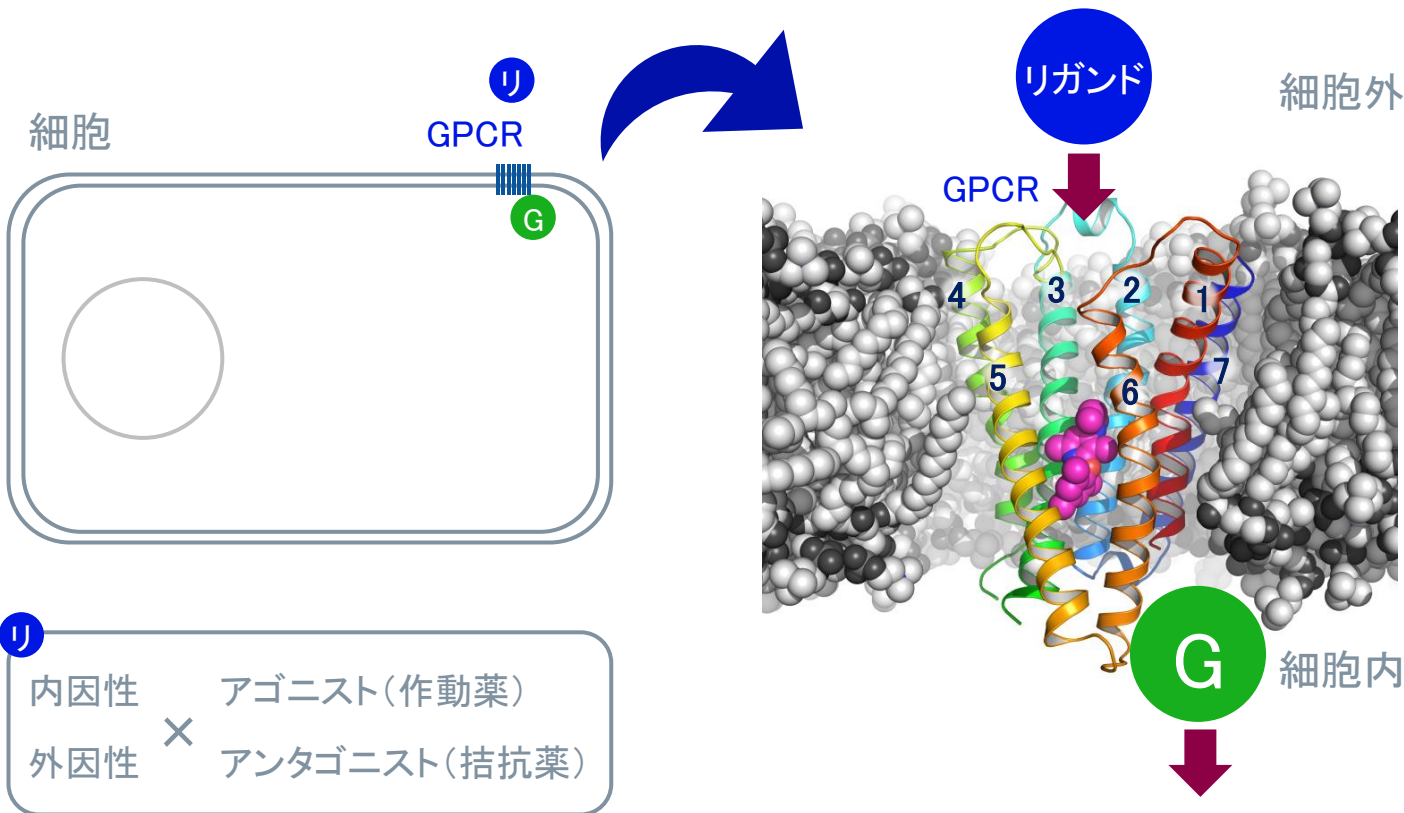
 : APAC* での権利を保有

 : 日本での権利を自社で保有

ネクセラファーマのプラットフォーム事業の強みは？

GPCRとは？

Gタンパク質共役受容体 (G Protein-Coupled Receptor) と呼ばれ、細胞のシグナル伝達を担う



GPCRの例

- アデノシン受容体
- アドレナリン受容体
- ヒスタミン受容体
- ソマトスタチン受容体
- オピオイド受容体
- GLP-1受容体

GPCRを対象とした薬の例

Seroquel[®]
quetiapine

zyprexa[®]
Olanzapine

PIVLAZ[®]
clazosentan

OZEMPIC[®]

Diovan[®]
valsartan capsules

ABILIFY[®]
(aripiprazole)

2022年に約24兆円の売上高*

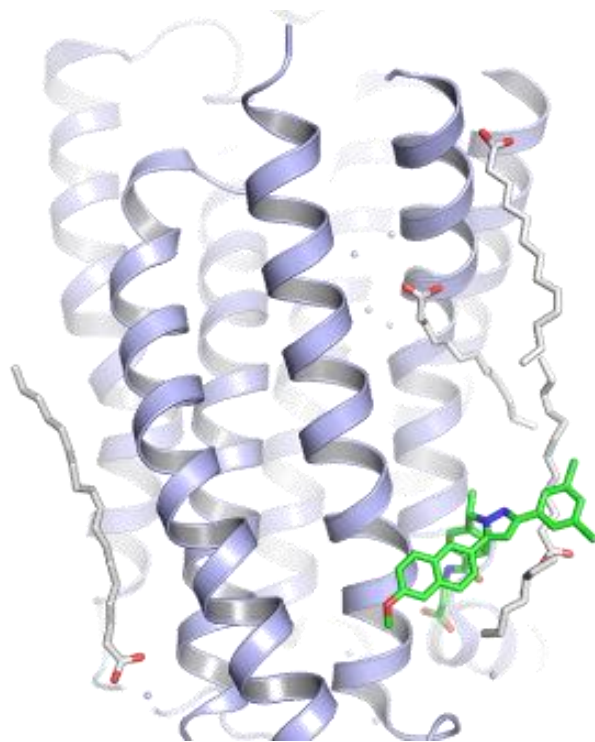
GPCR = Gタンパクとくっついたり離れたりしながら、主に細胞内外でのシグナル伝達を担っているセンサー

* Pharmacogenomics of GPCR Drug Targets

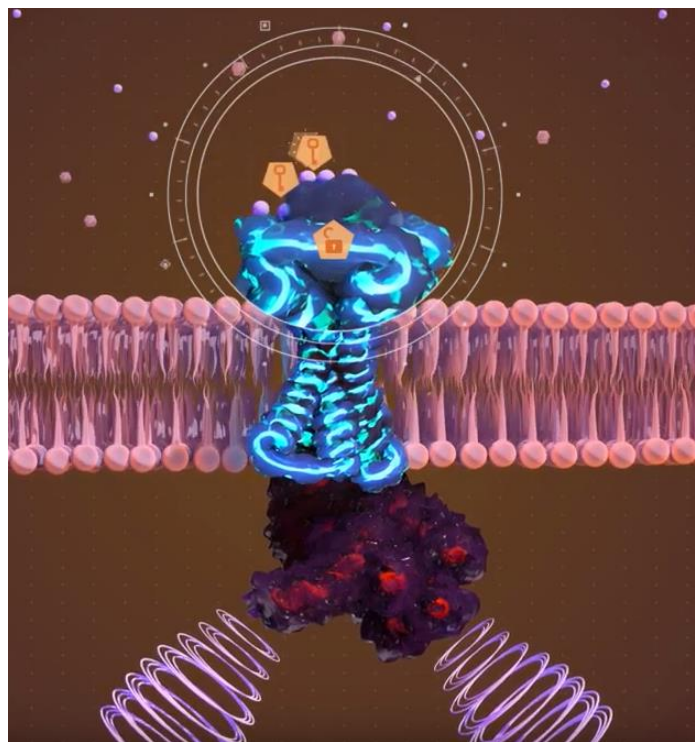
出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016, "Trends in GPCR in Drug Discovery - new agents, targets and indications", Nature Reviews, 2017等より当社作成

NxStaR™技術により高度なGPCR創薬を実現

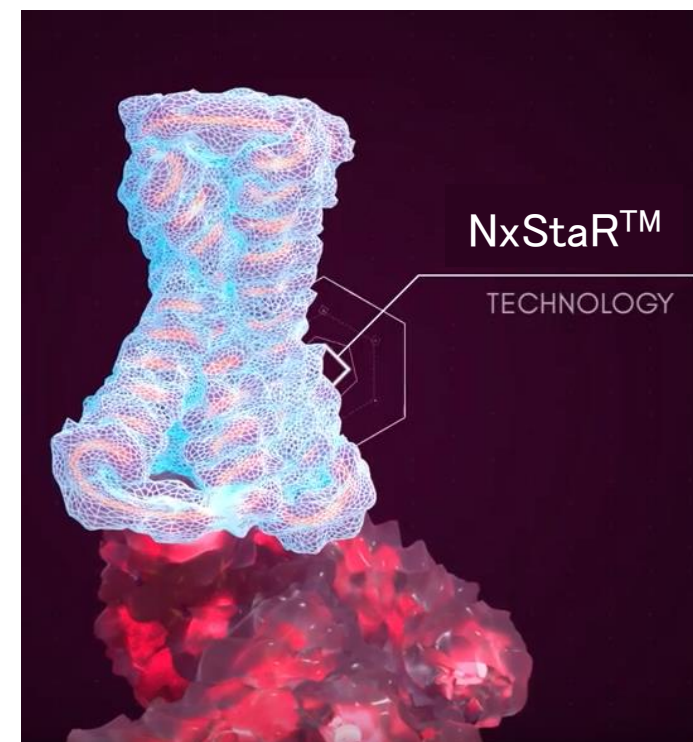
GPCRの構造を知ることで、より優れた高度な創薬が可能に



GPCRは複数の疾患領域に関わっており、幅広い治療の可能性



しかし、GPCRの構造が不安定であるという性質から創薬が困難



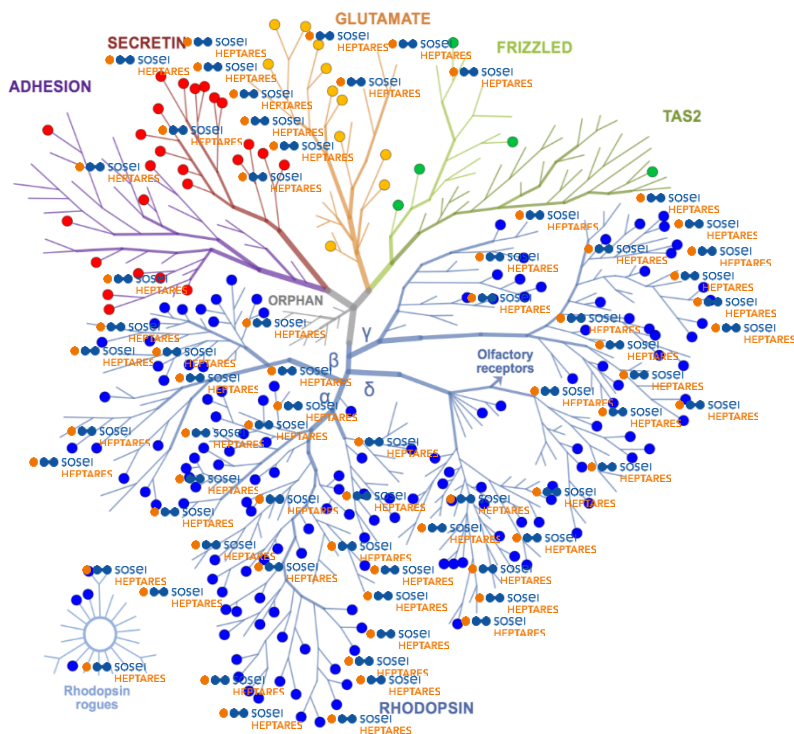
商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

当社技術による成果: GLP-1の構造

これまで375以上のGPCRの分子構造を特定、ペプチドアゴニストに結合したGLP-1受容体の構造を世界で初解明



GPCRの分子構造同定の実績



50以上の異なる受容体から
375以上の分子構造を同定
80以上のStaR®を開発



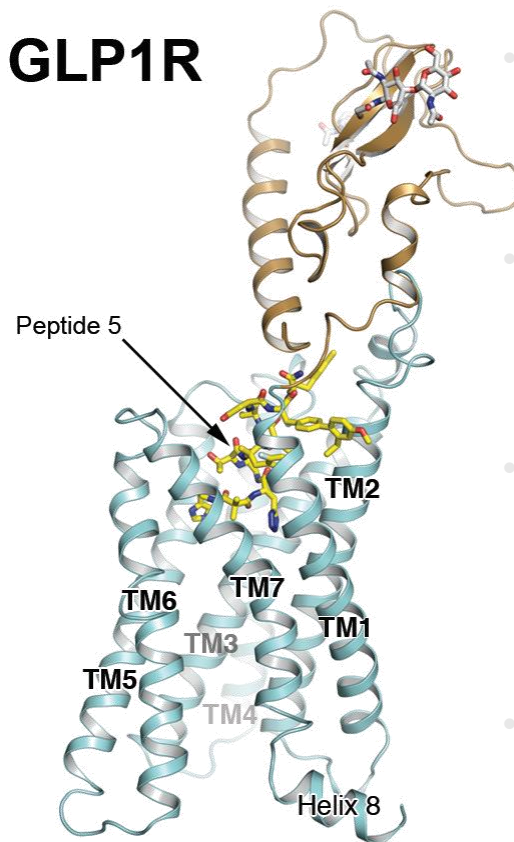
Protein Data Bank (パブリックドメイン)に
構造が公開されている受容体



当社グループが
StaR®を開発した受容体

ペプチドアゴニストに結合したGLP-1受容体構造を初めて解明

GLP1R



- 当社の科学は、受容体の相互作用がいかに複雑であるかを浮き彫りにしている
- 当社の科学は2017年に*Nature*に掲載されたことで世界的にも認められている
- 当社の科学は多くの知見を提供したことで、世界的にブームとなっているGLP-1に対する創薬・開発を可能にしている
- 当社の科学は人々の健康に対して重要な貢献をしている

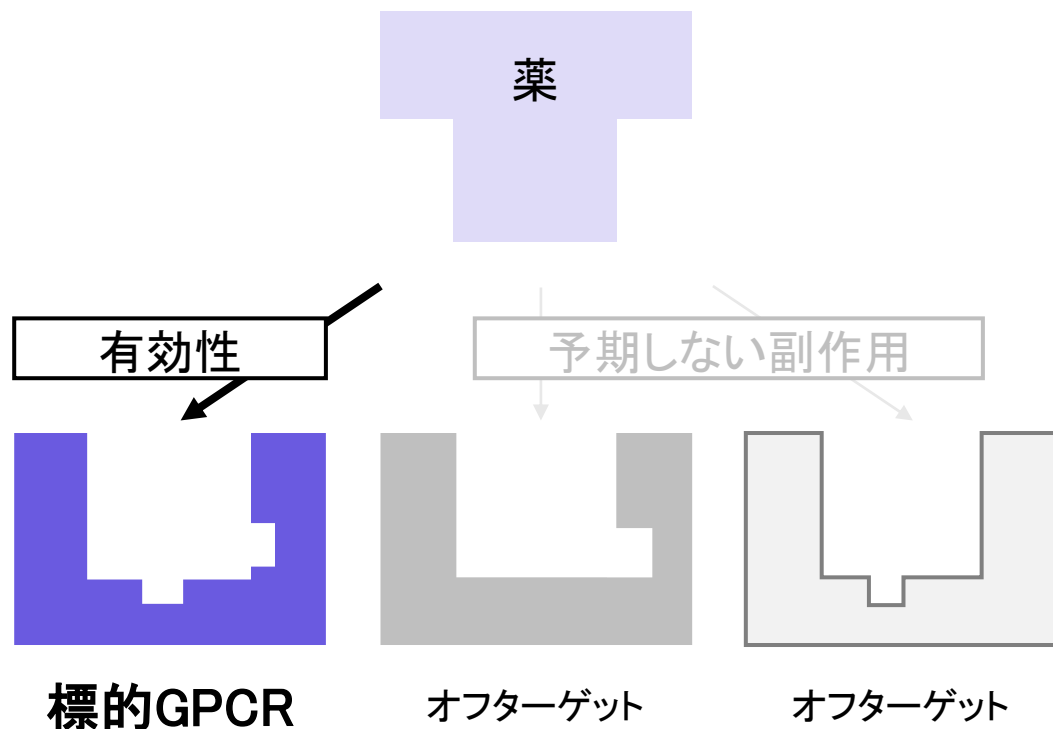
当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

精密な構造解析によって、優れた医薬品デザインが可能となる



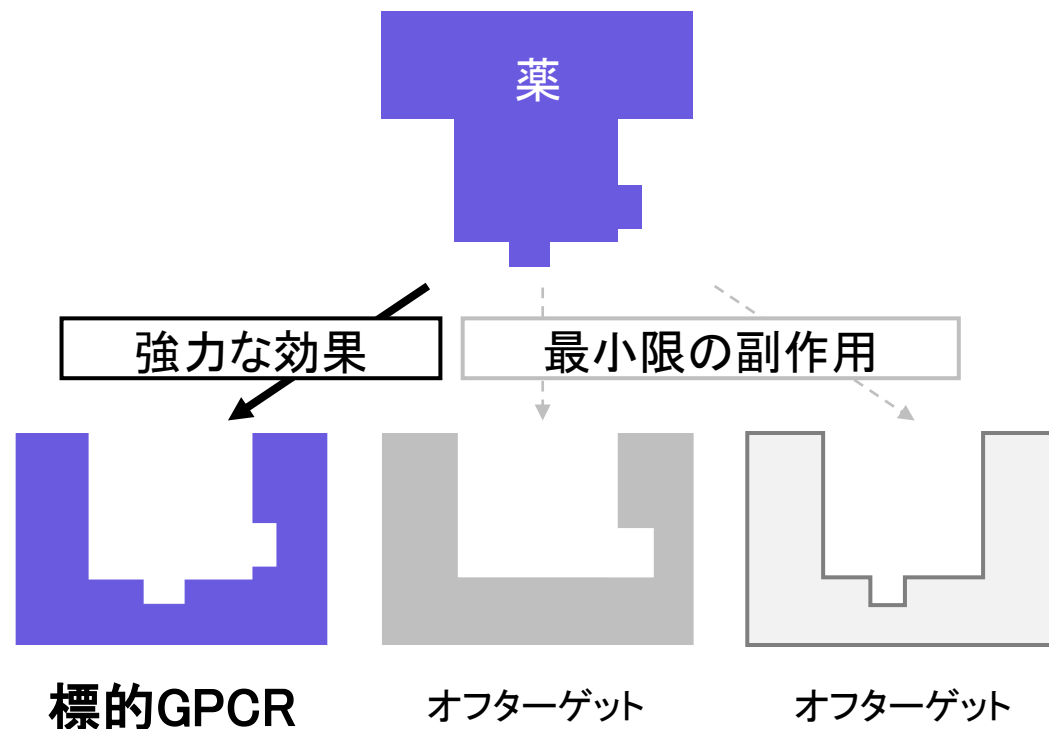
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

GPCR(鍵穴)に対する理解が不十分だと医薬品(鍵)も最適化できない



精密なGPCRモデル：優れた薬

GPCR(鍵穴)をよく知ることによって選択性が上がり、有効性を高め副作用を最小化できる



GPCR創薬の可能性: 多くの機会が残る領域

GPCR創薬にはいまだ650以上のファーストインクラスの可能性が残る



ベストインクラスの可能性(約120): すでに医薬品が存在



全体で約**800** の創薬機会 (潜在的に約400個の創薬ターゲットとなるGPCRが存在)

Marketed drugs only, *27 GPCRs × 2 (ago. and ant.)

Sources: GPCRs as targets for approved drugs: How many targets and how many drugs? (2018), Evaluate Pharma, The IUPHAR/BPS Guide to PHARMACOLOGY

NxWave™ プラットフォーム: 医薬で最も成長する領域でも実績

これらの領域で、提携先のグローバル製薬企業とともにイノベーションを起こしている



神経精神疾患

大きな市場機会

- ✓ Karuna社: 約140億米ドルで買収 (by BMS, 2023年)
- ✓ Cerevel社: 約90億米ドルで買収 (by AbbVie, 2023年)

複数のファースト/ベストインクラスのパイプライン

ムスカリン受容体作動薬



GPR52受容体作動薬



代謝性疾患

数100億米ドルの市場規模

- ✓ GLP-1受容体作動薬の2024年の市場規模は約7.5兆円(約500億米ドル)になると予想
- ✓ 2030年には約15兆円(1,000億米ドル)を超える可能性

強力なパートナーと複数パイプラインを開発

GLP-1受容体作動薬 (PF' 522)



複数のターゲットに対する探索研究プログラム



インクレチンの上流を標的とした自社開発プログラム
(経口低分子の新規食欲抑制薬)



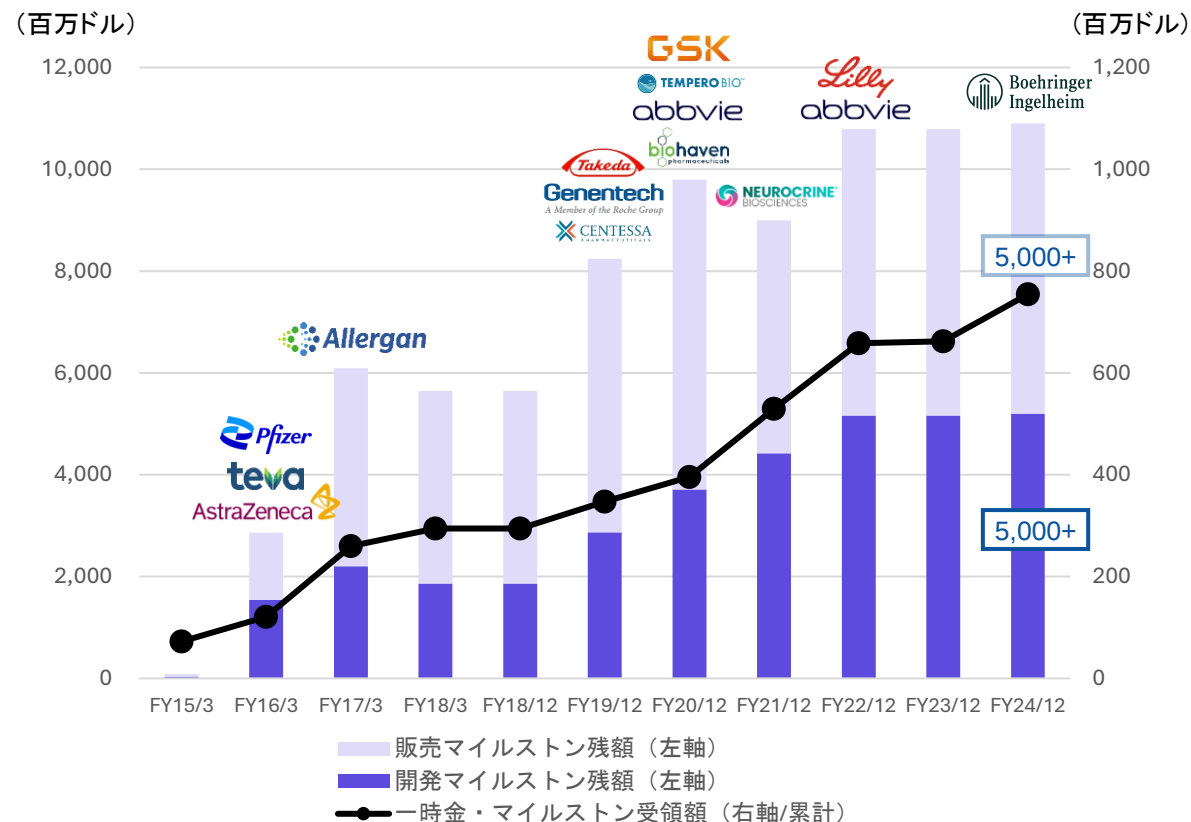
医薬品市場で最も成長している領域で、当社は理想的なポジションを確保

グローバルの大手製薬との豊富な取引実績があり…

既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

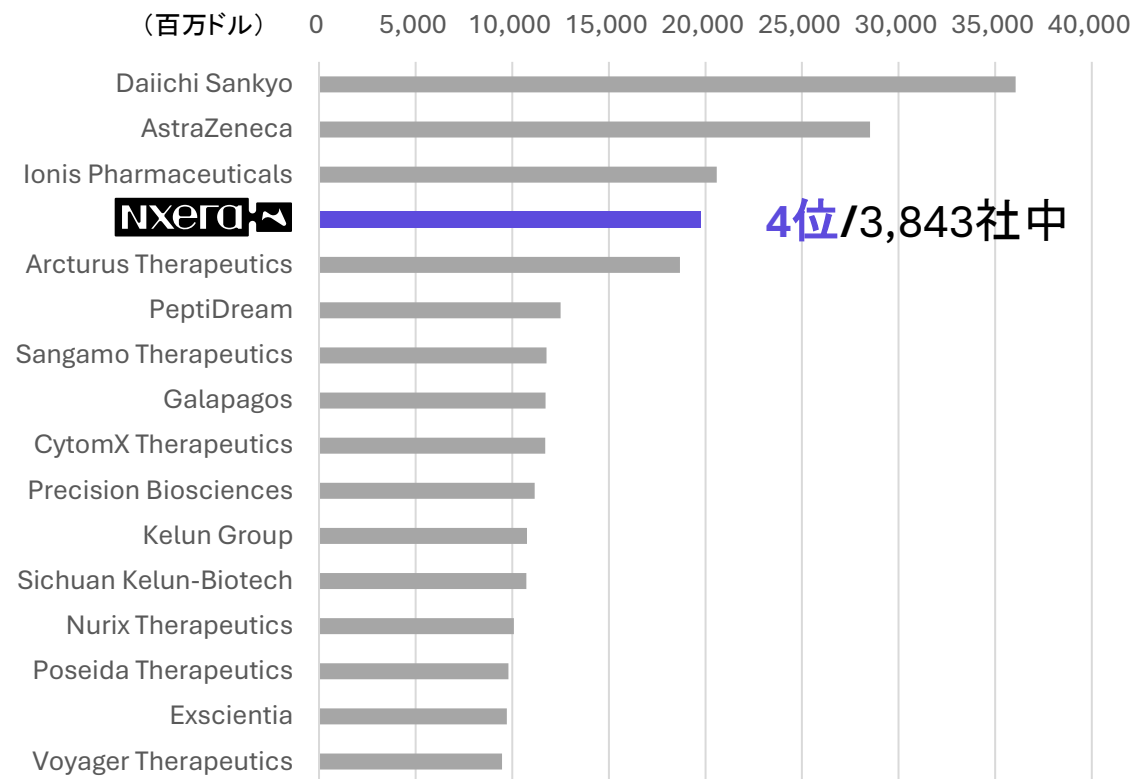


既存契約のマイルストーン残高推移¹



製薬/バイオ企業のライセンス金額ランキング上位15社²

(2015年以降累計)



¹ 現在契約中のもののみの期末時点の残高。化合物が返還されたTEVA社、Abbvie社(旧Allergan社)は、それぞれ18/3期、21/12期以降の残高から除外。 ² 第三者(EvaluatePharma社)独自のデータベースの「Licensing」の分類に基づき作成しているため、左図の金額と完全に一致しない

出所: 当社資料より作成(左図)、EvaluatePharma(2024/10/17時点)より作成(右図)



ネクセラファーマの商業事業の強みは？

日本の市場機会は大きい

日本は大きな市場規模を有し、臨床試験・規制の質の高さもあり世界的に見ていまだ魅力的な市場。
ドラッグロス・ドラッグラグ解消の議論が高まっており、規制動向によってはさらに魅力が増す可能性。



3番目に大きな 医薬品市場

- 日本の市場規模は10兆円程度であり、
いまだに世界的に見て大きな市場規模を誇る

質の高い 臨床試験/規制環境

- 新薬を評価できる医師・医療従事者へのアクセス
- 新薬の患者への普及速度が速い

70%に迫る ドラッグラグ・ドラッグロス

- 欧米で承認された新薬のうち約70%は日本では未承認
(ドラッグラグも含む)
- 欧米では満たされたニーズが、日本ではいまだアンメット
ニーズとして存在

規制動向によっては
さらに魅力的な市場
になりうる

例：国際共同治験前の事
前試験のスキップ、薬価
への加算、等

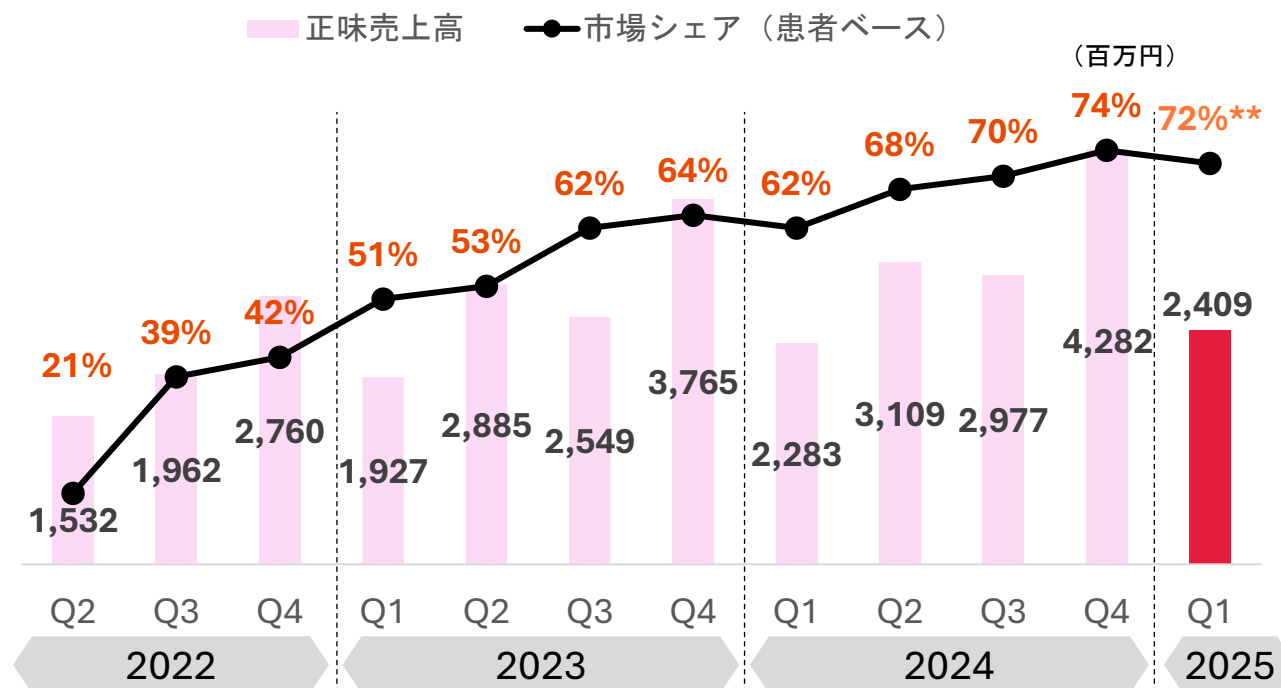
ピヴラッツ® (クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬)

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

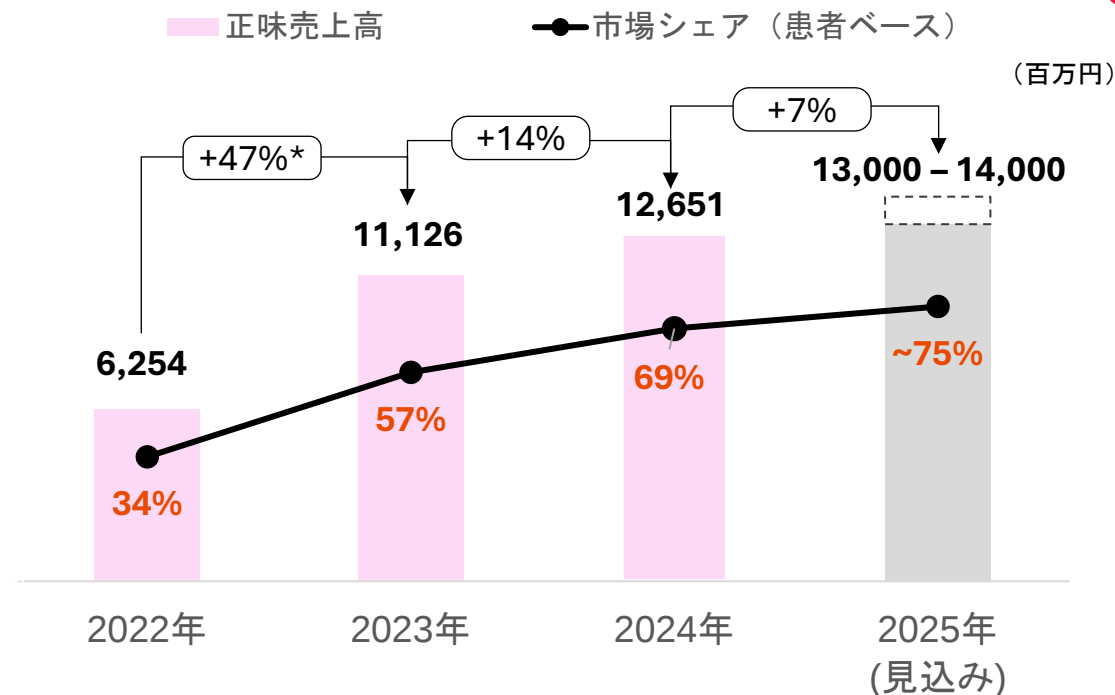
エンドセリン受容体拮抗薬
ピヴラッツ® 点滴静注液 150mg
薬価基準収載



ピヴラッツ®の四半期売上



ピヴラッツ®の年間売上と成長率



ピヴラッツ®は急速に普及しており、脳血管攣縮の予防における標準治療薬となりつつある

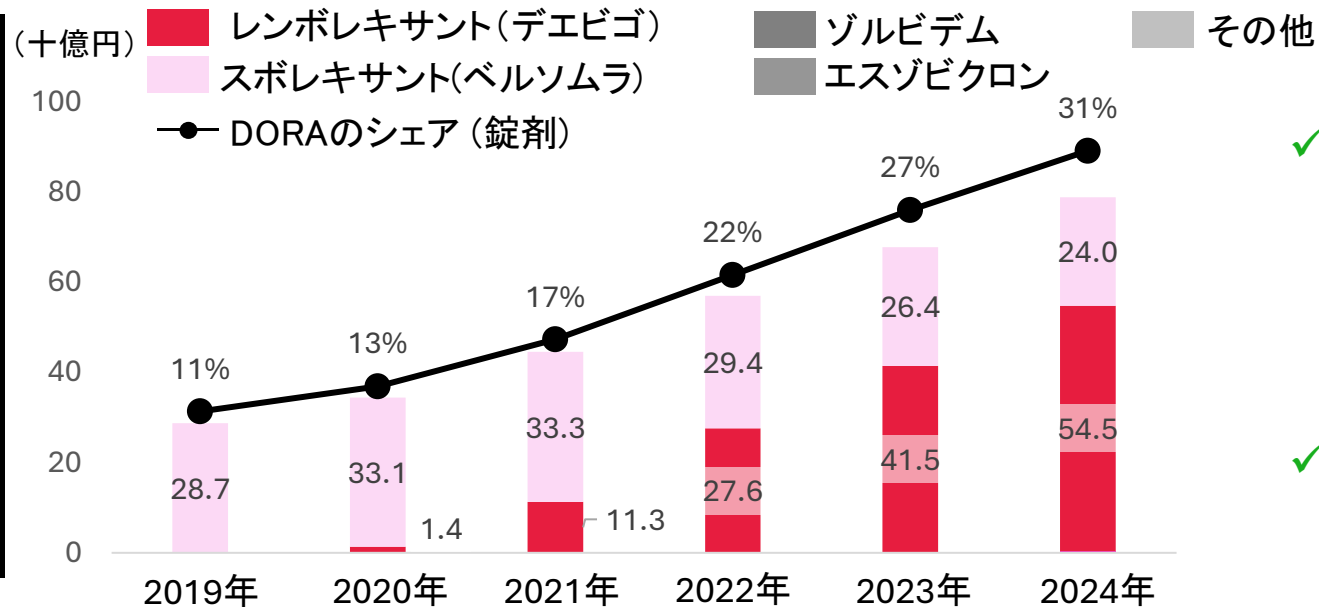
クービビック®*: 新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)

DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している

不眠症治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬
クービビック®錠 25mg 50mg
薬価基準未収載



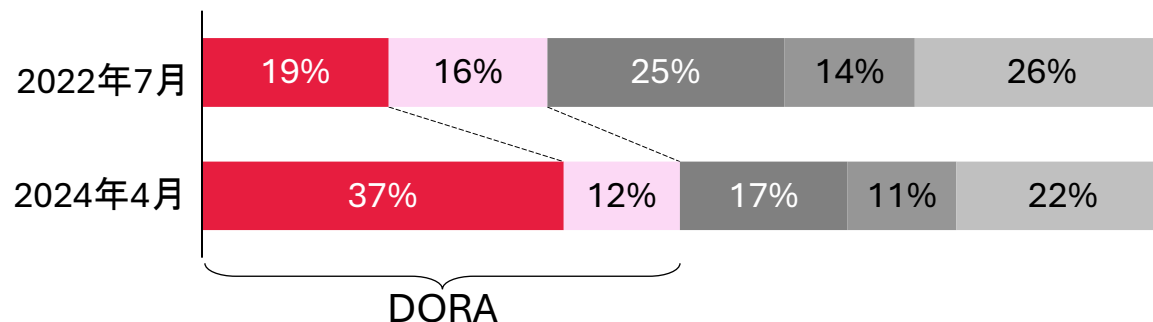
薬価ベース売上
および市場シェア



✓ 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

処方頻度
(最も処方頻度の高い睡眠薬)



✓ パートナーの塩野義製薬とともに、クービビック®がベストインクラスの薬剤となることを目指す

ピヴラッツ®およびクービビック®の2025年の売上ガイダンス

ピヴラッツは正味売上高で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



130～140億円

(薬価ベース：157～169億円)

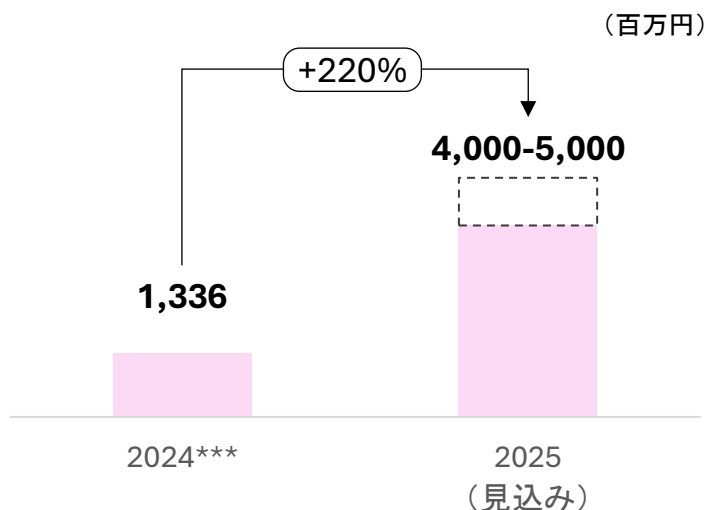
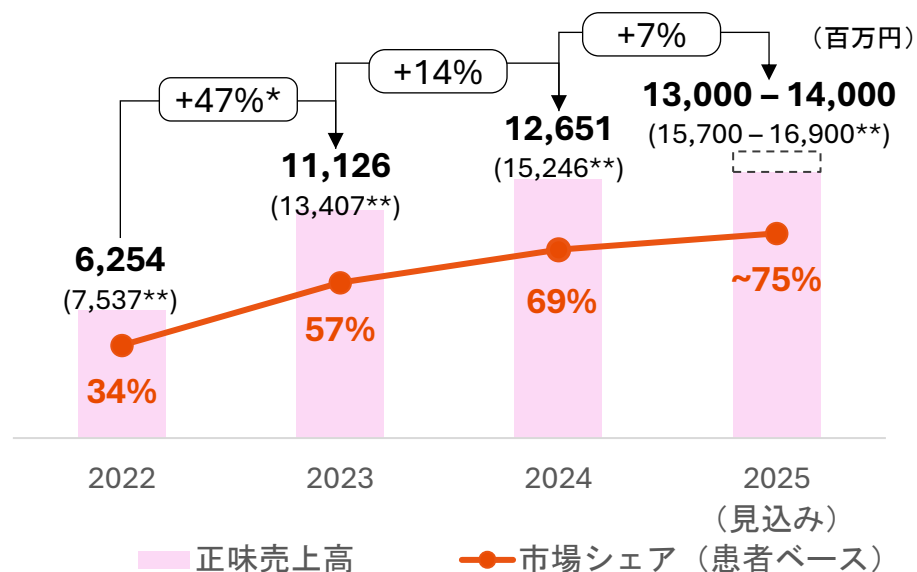
+7%

40～50億円

(塩野義の26/3期予想93億円)

+220%

売上推移



出所：MDV DPC hospital data

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

クービビック®の売上・利益構造のイメージ

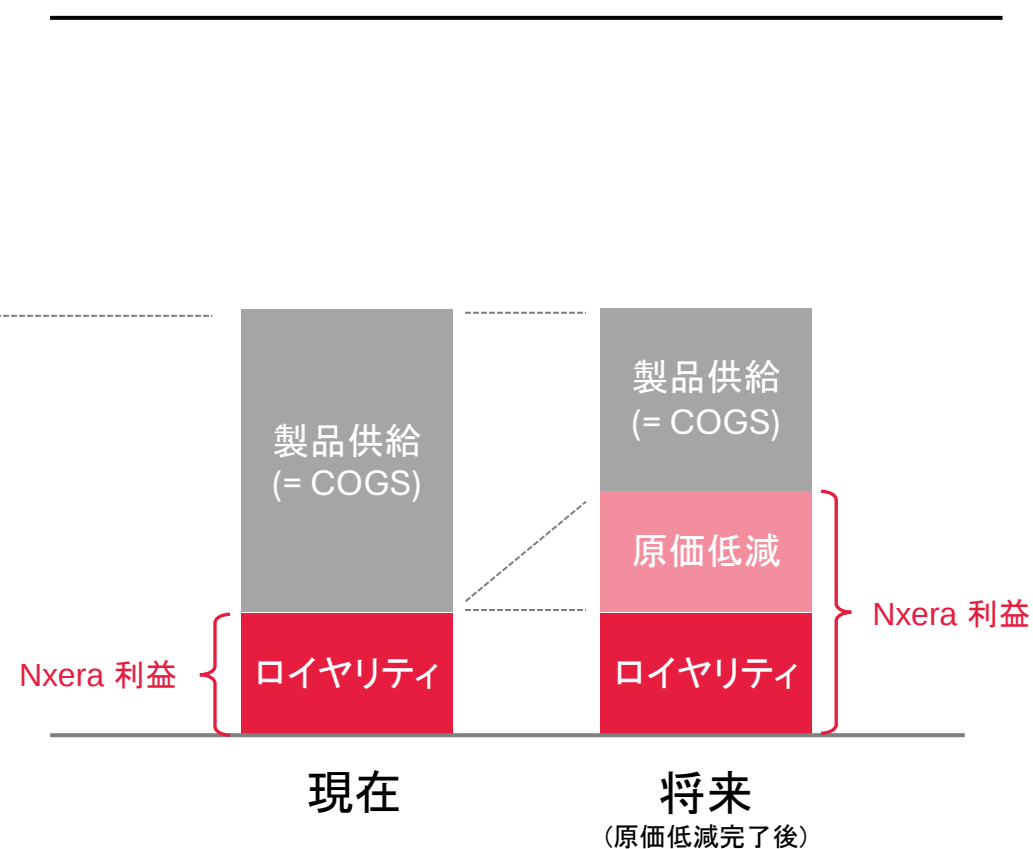
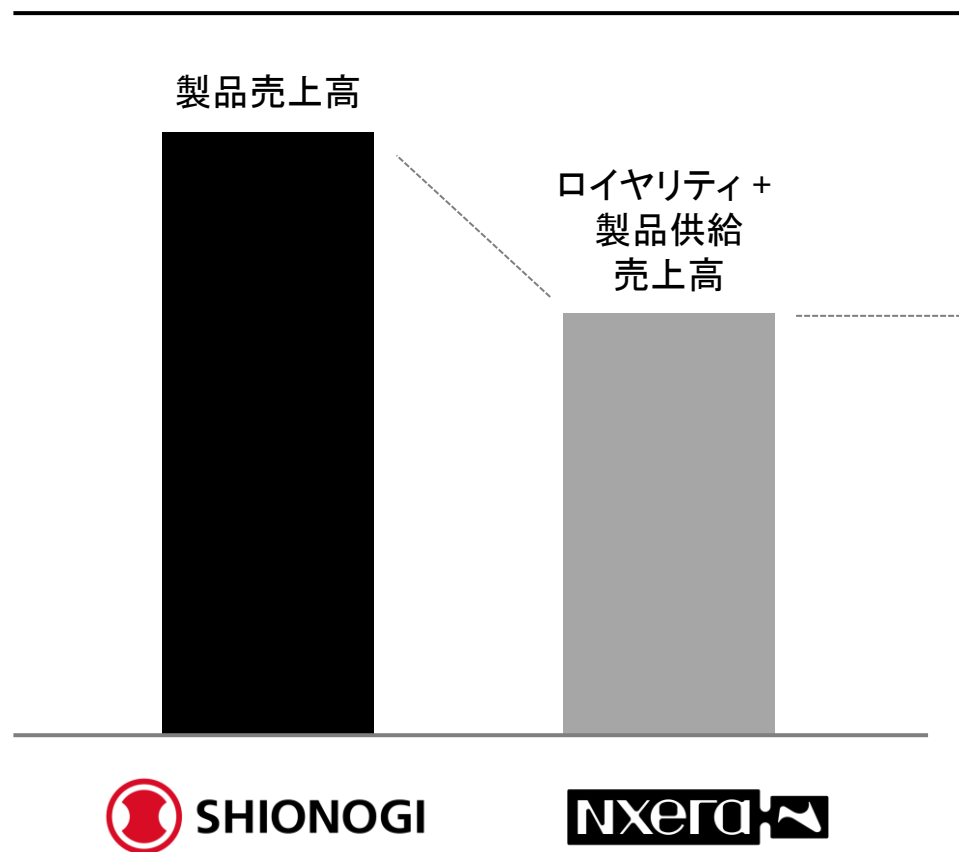
利益は当面はロイヤリティ収入によるが、将来は原価低減効果による利益増大が寄与

不眠症治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬
クービビック®錠 25mg 50mg
薬価基準未収載



売上構造

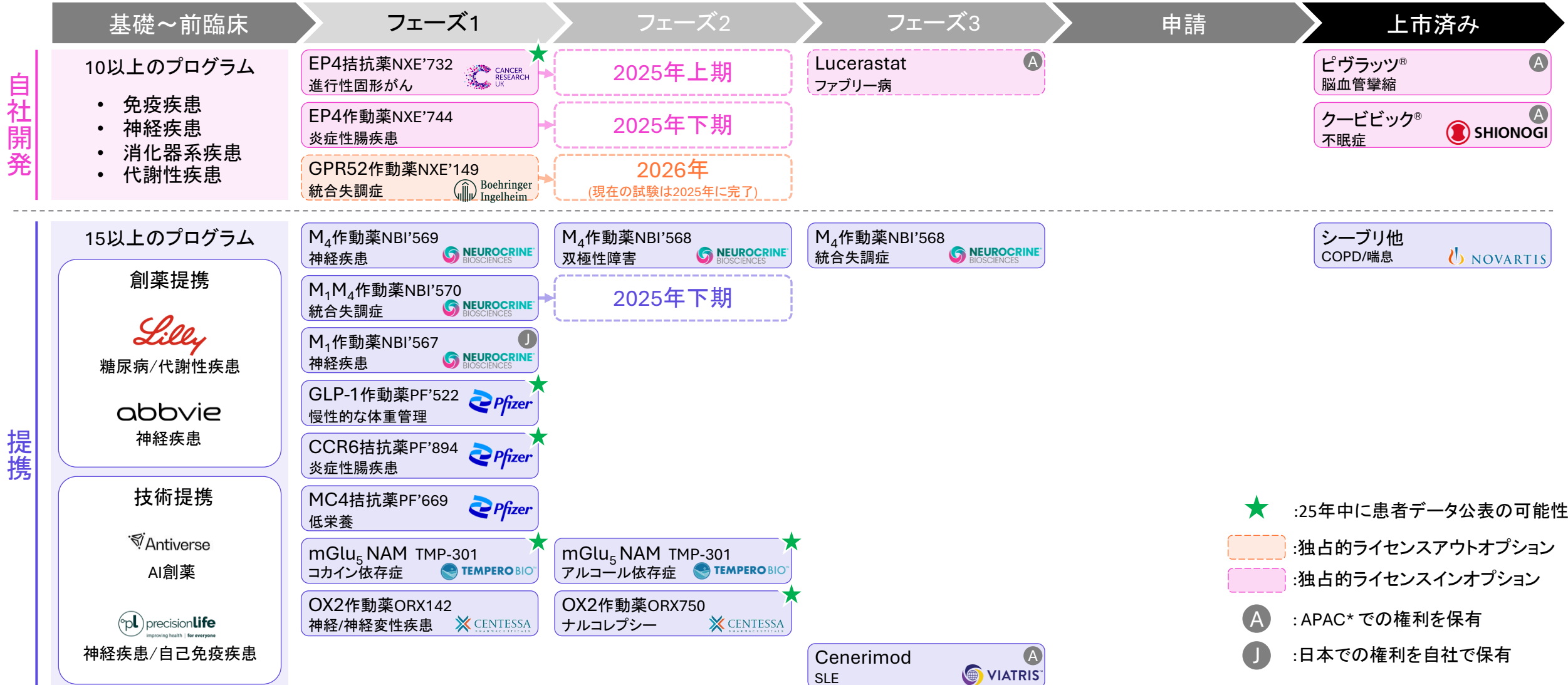
当社の利益構造



今期の展望

03

主なパイプライン(今後の見通し含む)



★ :25年中に患者データ公表の可能性

▨ :独占的ライセンスアウトオプション

▨ :独占的ライセンスインオプション

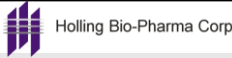
A : APAC* での権利を保有

J : 日本での権利を自社で保有

* 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 / II a 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	 	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
Lucerastat		2025年上期	オプション権行使の判断
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	2025年上期	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)	 	2025年下期	フェーズ1b試験完了
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	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)
ORX142 (OX2受容体作動薬)		2025年下期	フェーズ1試験データ取得
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	 	2025年	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
クービビック®		随時	APACでの導出

*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

ネクセラファーマの2030年の姿は？

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	 TEMPERO BIO™ P2 mGlu5 NAM 物質使用障害  CENTESSA P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー  NEUROCRINE 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	 CENTESSA 前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する 睡眠障害  NEUROCRINE P1 M4 作動薬 P1 M1 作動薬 認知機能障害、精神疾患  NXera P1 GPR52 作動薬 統合失調症  abbvie 創薬 複数ターゲット 神経疾患
代謝性疾患	23兆円 (1,500億ドル) 以上	 P1 GLP-1 作動薬 2型糖尿病 / 肥満症 P1 MC4 拮抗薬 低栄養	 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	 Pfizer P1 CCR6拮抗薬 炎症性腸疾患  NXera P1 EP4拮抗薬+ PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法  CANCER RESEARCH UK	 NXera P1 EP4 作動薬 炎症性腸疾患
		最大2,500億円(ピーク時の合計ロイヤリティ)	数千億円のマイルストー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)

WAVE1 + WAVE2 からのロイヤリティによる飛躍的な成長

7つのWAVE1のうち、1~2品目が上市されるだけで、収益性が劇的に向上

少なくとも500億円のコアとなる売上高

CAGR
15+%

288億円

117億円

130

135

利益率**
(30%+)

利益率**
(40%+)

WAVE1
Royalty

100~150

100~150

300~350

WAVE2
Royalty

WAVE1
Royalty

WAVE2 ロイヤリティ

次世代パイプラインから見込める
ロイヤリティ

WAVE1 ロイヤリティ

主要7品目から見込めるロイヤリティ
(M4、GLP-1、OX2、CCR6、MC4、mGlu5、
EP4拮抗薬)

契約一時金 + マイルストン

新規・既存の導出品からの契約一時金お
よびマイルストン

新製品

導入または買収により今後獲得する製品の
売上

現行製品

ピヴラッツ®、クービビック®の供給、クービ
ビック®のロイヤリティの売上

ロイヤリティ



Commercial

2023年(FP)*

2024年

2030年

2035年

注: * 収益の数値は、イドルシアファーマシューティカルズジャパンおよびIdorsia Pharmaceuticals Koreaの数値を合算したものであり、2023年のピヴラッツ®の年間製品売上高を反映

** WAVE1とWAVE2のロイヤリティは除外



Deep Dive



04



最も進んでいるムスカリンプログラムとは？

統合失調症の治療ニーズ

患者数は多く治療薬も多いものの、治療満足度が低く新しい薬が求められている。



統合失調症とは

- ・ 幻覚・妄想など様々な症状が現れる精神疾患
- ・ 日本では約**70万人**
世界中で約**2300万人**程度
の患者さまがいると言われている
- ・ 多数の医薬品が使われており、100億ドルを超える市場規模

大きなアンメットニーズ

30%
の治療満足度

- ・ 抑うつなどの陰性症状や認知障害などは有効な薬剤が限定的
- ・ 治療薬の副作用も満足度に影響

70年間
イノベーションなし

- ・ 現在の治療法も作用機序は1950年代と同様

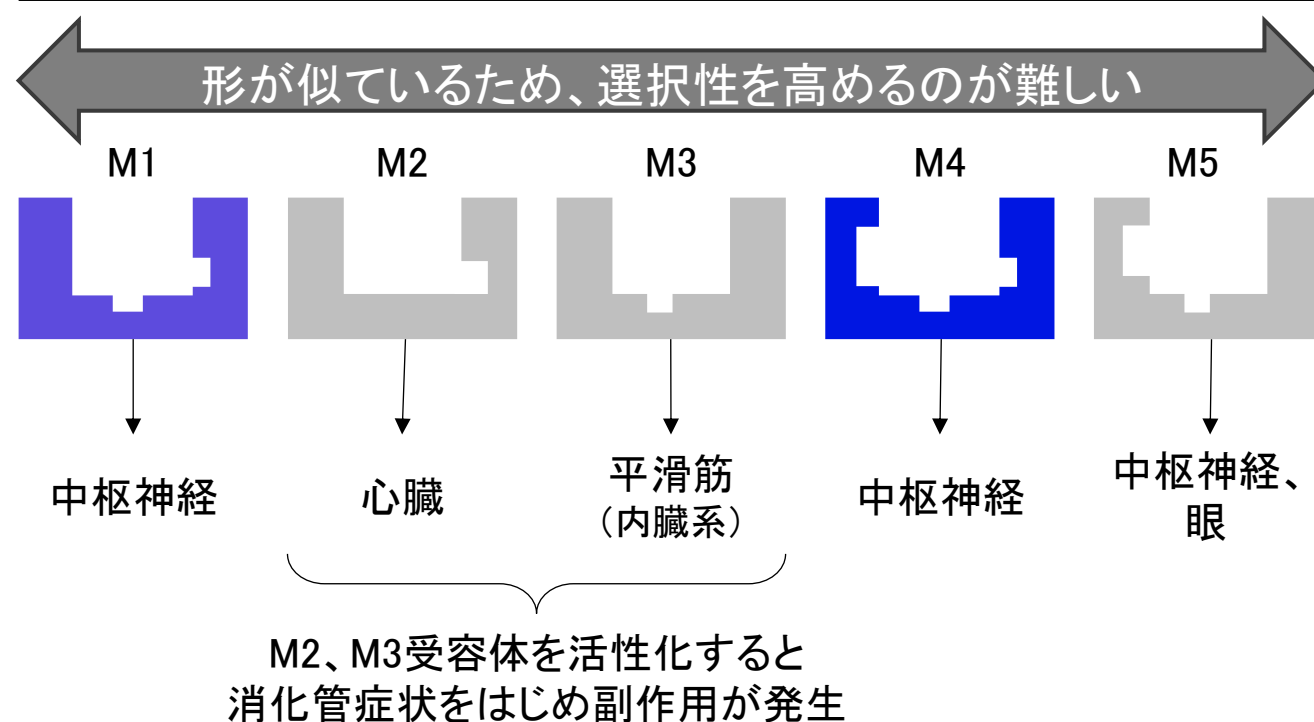
ムスカリン受容体と統合失調症

M1、M4受容体は以前から統合失調症に効果があるとわかっていたが、M2、M3への作用を避けることが技術的に難しく、ムスカリン作動薬は長らく開発ができていなかった

ムスカリン受容体

- ムスカリン受容体のM1とM4は統合失調症に関連が深いドーパミンの合成・放出・シグナル伝達に関わる
 - M1: 認知症状
 - M4: 精神症状

ムスカリン受容体作動薬の難しさ



ムスカリン受容体作動薬は、効果はあると言われながらも副作用の回避が技術的に難しかった

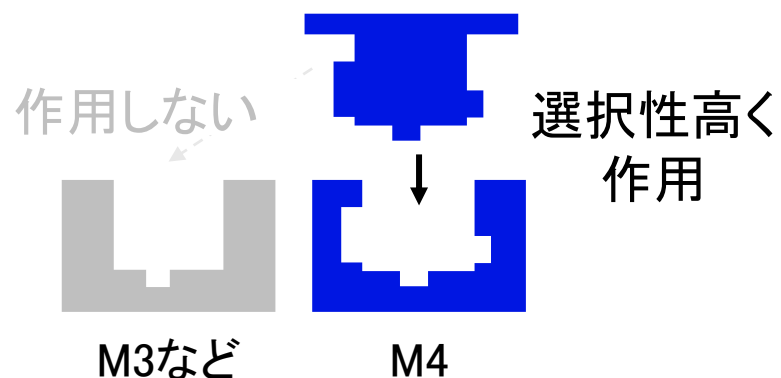
M4作動薬と他社の作動薬との違い

他社と異なり、生体内のM4アゴニストに近い作用を示すことが期待される

Nxera / Neurocrine (NBI-1117568)

2025年
Ph3試験開始

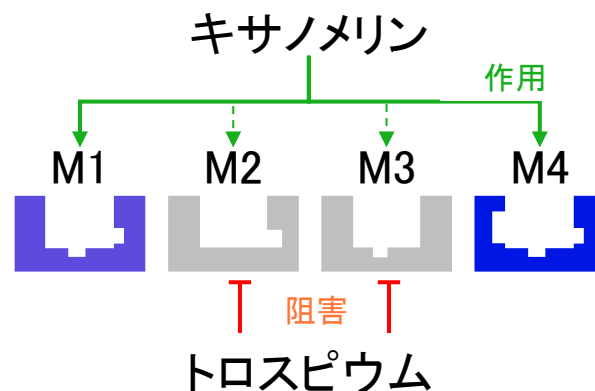
構造ベース創薬でM4への選択性が高い
作動薬を開発



Karuna / BMS (Cobenfy)

米国で販売開始

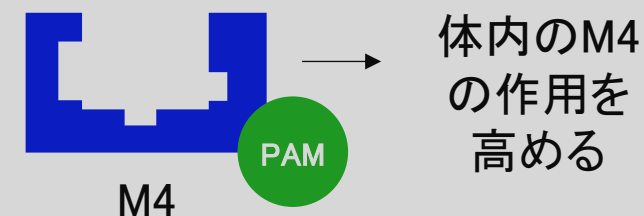
キサノメリンによるM2、M3への
効果をトロスピウムにより抑制させ、
M1・M4のみを作動



Cerevel / AbbVie (Emraclidine)

2024年11月 Ph2試験失敗

M1-M5間で構造が似ていない
部位に結合し、M4受容体を正に
制御(アロステリック制御)



当社製品・競合薬の動向(ムスカリンプログラム関連)

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	企業名	モダリティ	適応症	臨床試験	被験者数	終了日	状況	次のステップ
ムスカリンプログラム									
NBI-1117568	M4 作動薬	Nxera/Neurocrine	低分子	統合失調症	NCT05545111	210	2024-07-10	P2	
				統合失調症	NCT06963034	280	2027/10	P3	
				統合失調症	-	-	-	P3	
				統合失調症	-	-	-	P3	
NBI-1117569	M4 作動薬			神経疾患	-	-	-	P1	25年 Readout
NBI-1117570	M1/M4 作動薬			神経疾患	2023-508814-40-00	-	2025-09-04	P1	25年 Readout
NBI-1117567	M1 作動薬			神経疾患		-		P1	25年 Readout
KarXT/Cobenfy	M1/4作動・M2/3拮抗薬	Karuna/BMS	低分子	統合失調症	EMERGENT-2 / NCT04659161	252	2022/5/24	上市	
				統合失調症	EMERGENT-3 / NCT04738123	257	2022/11/29	上市	
				統合失調症(長期安全性)	EMERGENT-4(OLE) / NCT04659174	152	2023/10/3	上市	
				統合失調症(長期安全性)	EMERGENT-5(OLE) / NCT04820309	566	2024/5/24	上市	
				統合失調症(長期安全性)	PENNANT(OLE) / NCT05643170	4	2023/3/8	上市	
				SoC不適な統合失調症	ARISE / NCT05145413	360	2025/3/19	P3未達	
				ADにおける精神病	ADEPT-1 / NCT05511363	380	2026/10/5	P3	26年 Readout
				ADにおける精神病	ADEPT-2 / NCT06126224	400	2025/7/31	P3	25年2H Readout
				ADにおける精神病	ADEPT-4 / NCT06585787	408	2026/10/30	P3	26年 Readout
				双極性障害1型	BALSAM-3 / NCT06929273	300	2028/6/13	P3	25年2H Start
				ADにおけるアジテーション	ADAGIO-3 / NCT06937229	600	2029/7/20	P3	25年2H Start
Emracridine	M4 PAM	Cerevel/AbbVie	低分子	統合失調症	EMPOWER-2 / NCT05227703	373	2024/8/23	P2 未達	
				統合失調症	EMPOWER-3 / NCT05227690	379	2024/8/15	P2 未達	

出所: Neurocrine、BMS、AbbVieの説明会資料より当社作成

M4作動薬のP2試験トップライン結果

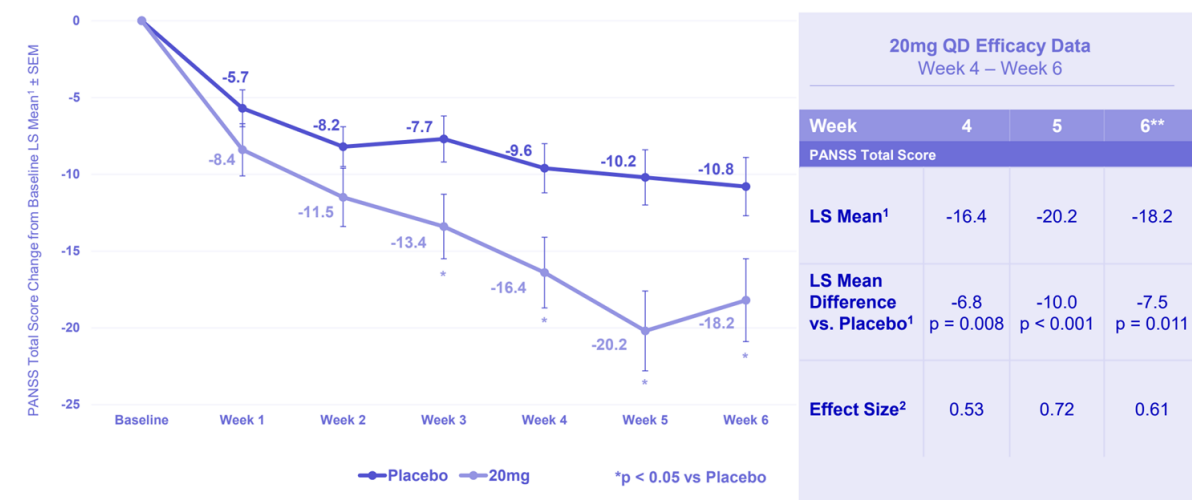
20mgで有効性を確認。プラセボとの比較で、投与3-6週で統計的に有意な差

Once-Daily 20mg Dose Met Primary Endpoint

PANSS Total Score vs Placebo

Week 6	Placebo N=68	20mg QD N=35	40mg QD N=38	60mg QD N=34	30mg BID N=26
PANSS Total Score					
LS Mean Change from Baseline*	-10.8	-18.2	-12.6	-13.7	-15.8
LS Mean Difference vs. Placebo, p-value*		-7.5 p = 0.011	-1.9 p = 0.282	-2.9 p = 0.189	-5.0 p = 0.090
Effect Size**		0.61	0.27	0.39	0.23

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



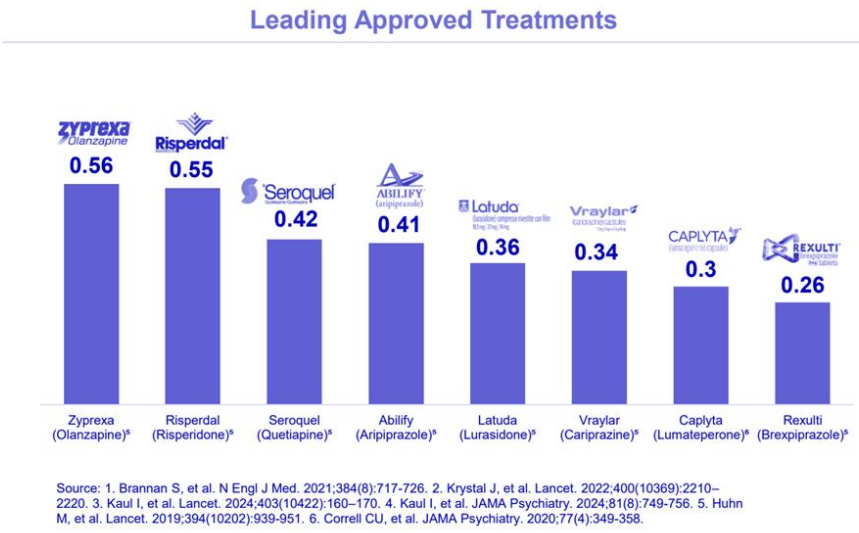
“20mg投与群では、3週から6週まで一貫してプラセボとの統計的有意差が見られたことから再現性のある反応が見え、データは強固だと考えている”

有効性データの比較(効果量による比較)

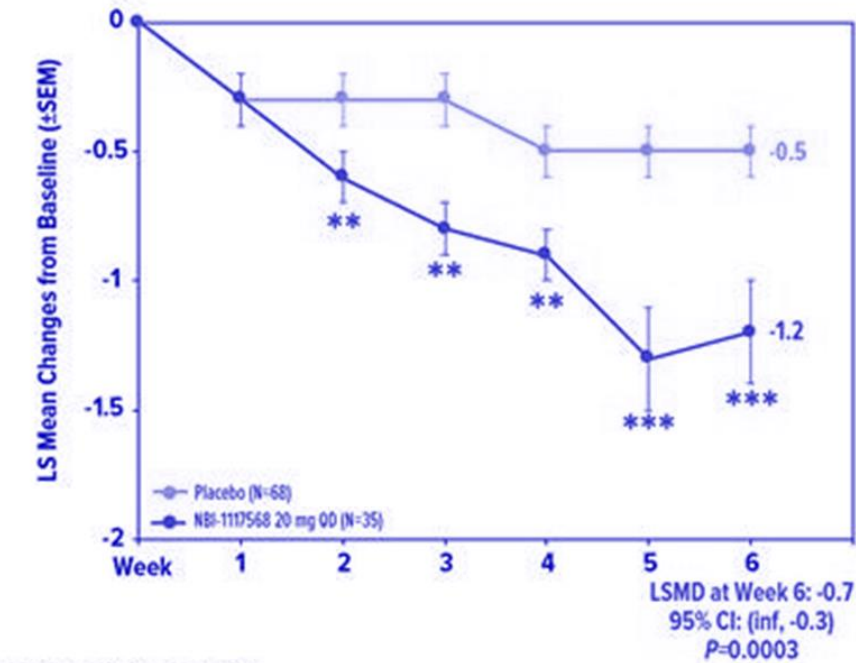
効果量についても、既存薬よりも大きく、開発中の他社と同等レベルの有効性を示している。



NBI-'568 Effect Size Comparable to Known Muscarinic Programs and Leading Antipsychotics



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.



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)

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

Cobenfy

Table 3.6. Pooled Treatment-Related Adverse Events in EMERGENT trials²⁰

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%

★
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

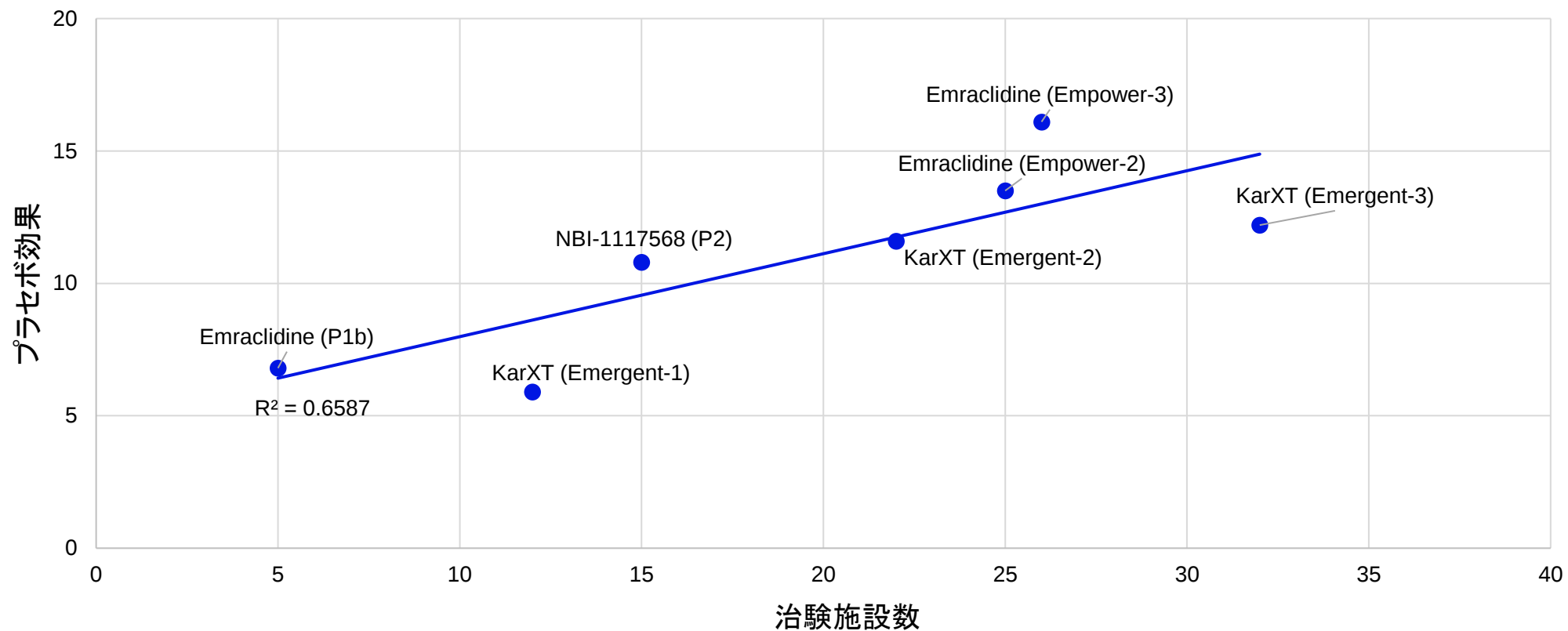
競合薬との施設数・試験機関の比較

NBI-1117568のP3試験は実薬:プラセボは1:1、施設数を約20施設に絞り込み、プラセボの影響を極力排除する

	Neurocrine/Nxera	Neurocrine/Nxera	BMS/Karuna	AbbVie/Cerevel
化合物	NBI-1117568	NBI-1117568	Cobenfy/Kar-XT	CVL-231/Emraclidine
試験名 / コード	NCT05545111	NCT06963034	EMERGENT-2/3	EMPOWER-2/3
投与経路	経口(一日1回)	経口(一日1回)	経口(一日2回)	経口(一日1回)
患者数	213名	280名+	計518名	計752名
患者割付	実薬:プラセボ = 2:1	実薬:プラセボ = 1:1	実薬:プラセボ = 1:1	実薬:プラセボ = 2:1
施設数	15施設	約20施設	22施設(EMERGENT-2) 32施設(EMERGENT-3)	26施設(EMPOWER-2) 25施設(EMPOWER-3)
試験期間	1.8年	25年5月-27年10月(2.2年)	1.6年	2.2年
フェーズ	フェーズ2(成功)	フェーズ3(試験中)	フェーズ3(成功)	フェーズ2(失敗)
主要評価項目	PANSS合計スコアの変化量 (6週後)	PANSS合計スコアの変化量 (5週後)	PANSS合計スコアの変化量 (5週後)	PANSS合計スコアの変化量 (6週後)

プラセボ効果のデータ比較 (Total PANSS)

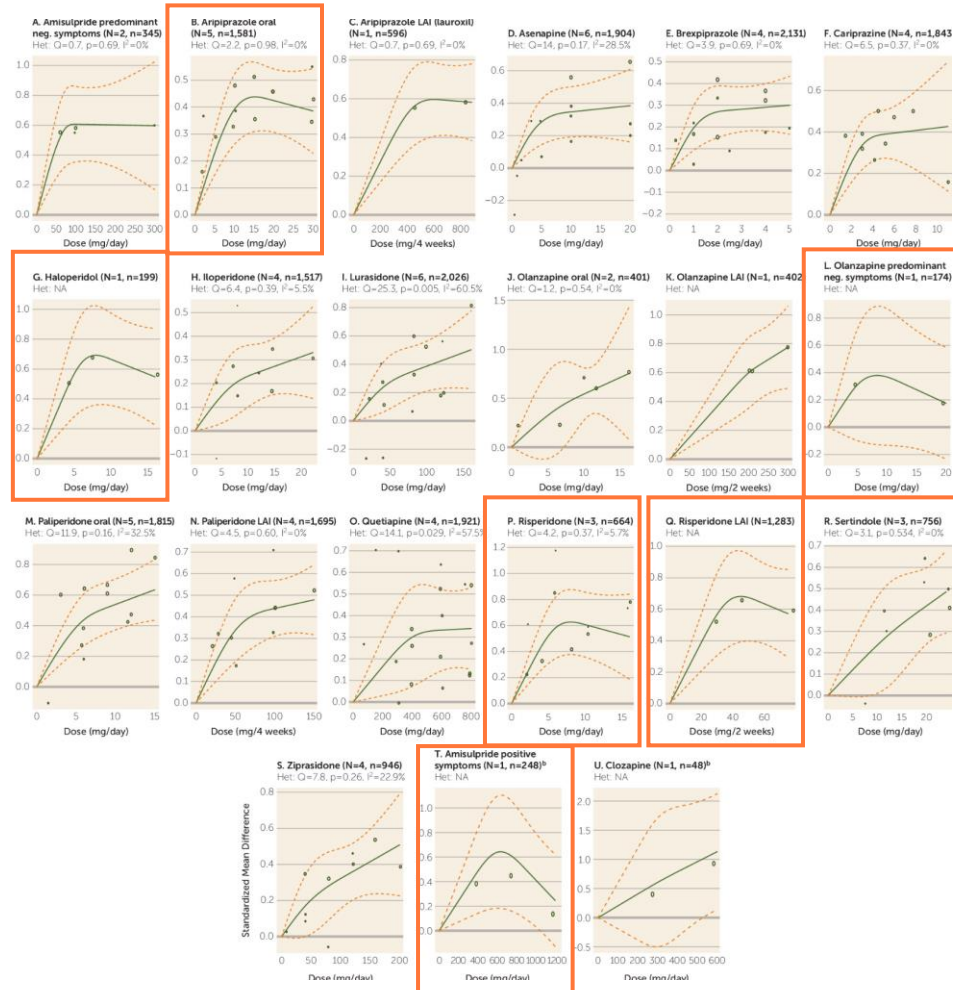
ムスカリン関連プログラムのプラセボ効果は施設数が増加すれば高まる傾向にあるか



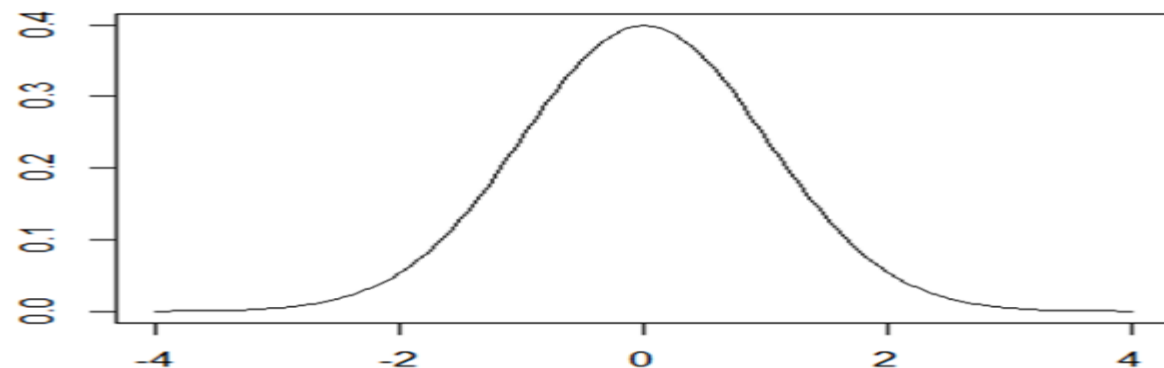
“プラセボ効果を管理するためには施設数も重要な要素の一つと考えている。”

精神疾患治療薬における用量・反応曲線

精神疾患の治療薬では、ベル型の用量・反応曲線を示すものも多い。



- メタアナリシスの結果から、精神疾患治療薬ではベル型の用量・反応曲線を示すことは一般的
 - B : アリピプラゾール（経口）
 - G : ハロペリドール
 - L : オランザピン（経口・陰性症状優位の患者）
 - P : リスペリドン（経口）
 - Q : リスペリドン（持続注射）
 - T : Amisulpride for Patients With Positive Symptoms（日本では未発売）

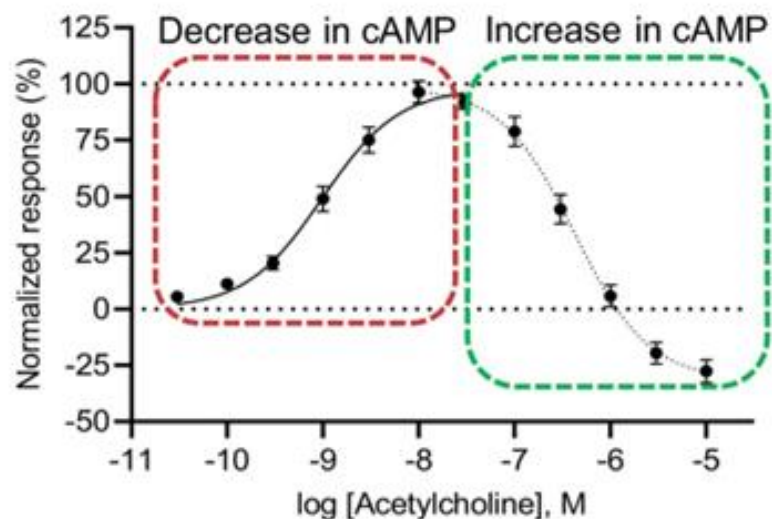


ムスカリンをターゲットとした化合物の細胞実験データ

実験レベルであるが、ムスカリンプログラムで先行するキサノメリンもベル型シェイプを示す



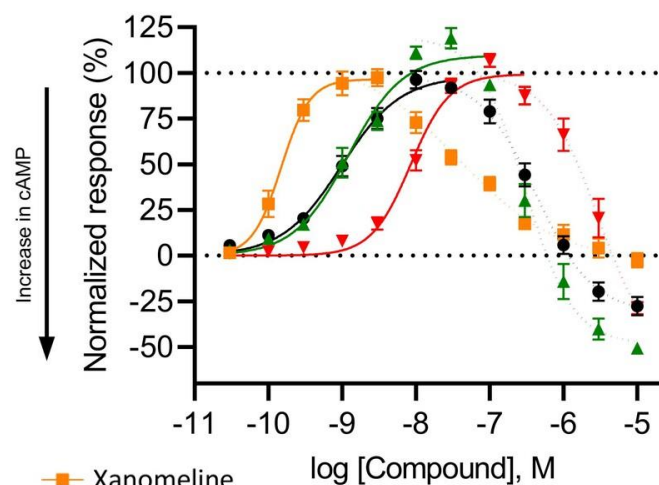
ベル型シェイプの反応のイメージ



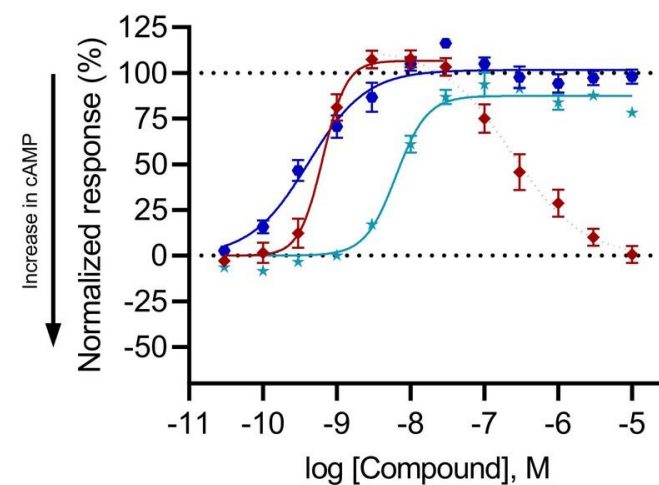
ムスカリン関連化合物の細胞実験アッセイ

A

48h dox induction (*high receptor expression*)

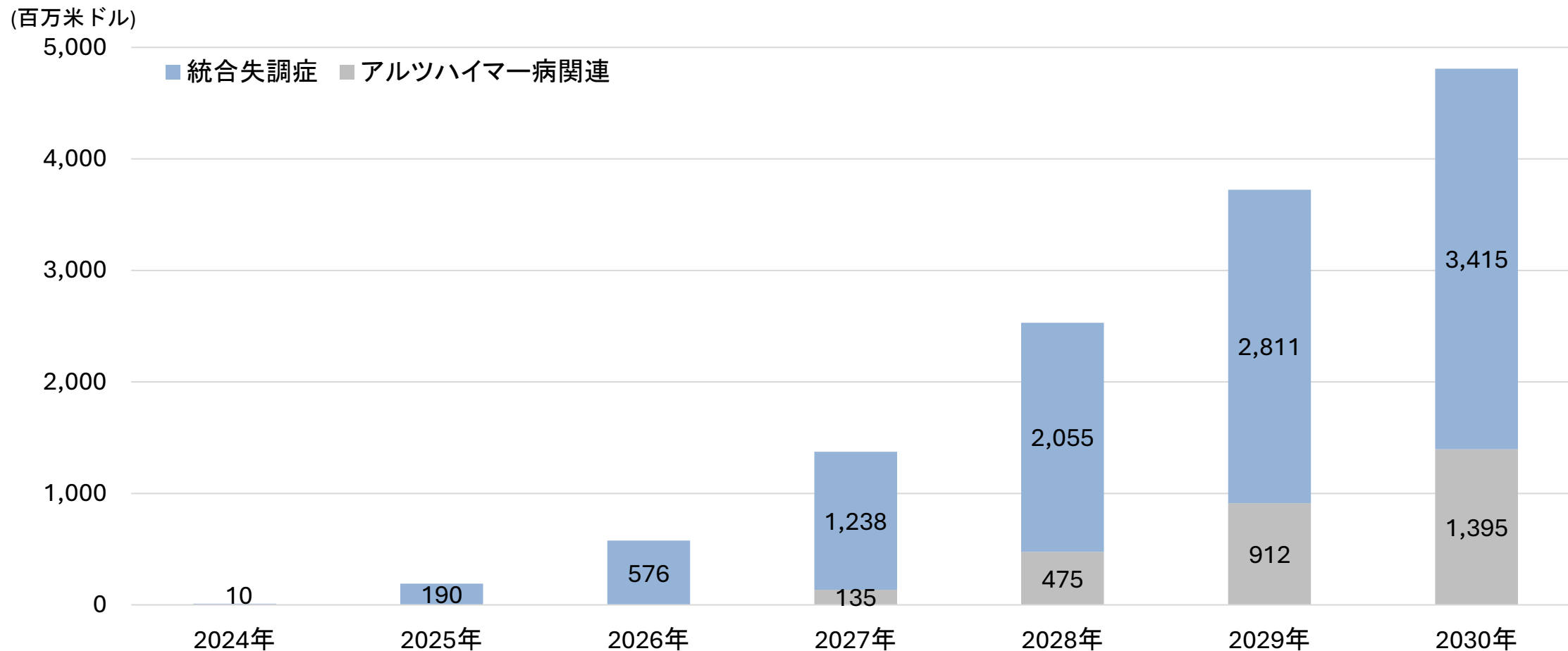


- Xanomeline
- Carbachol
- Oxotremorine-M
- Acetylcholine
- compound-110
- Clozapine
- compound-6



先行薬Cobenfyの売上予想

先行するCobenfyは、2030年に50億ドルに迫る売上予想



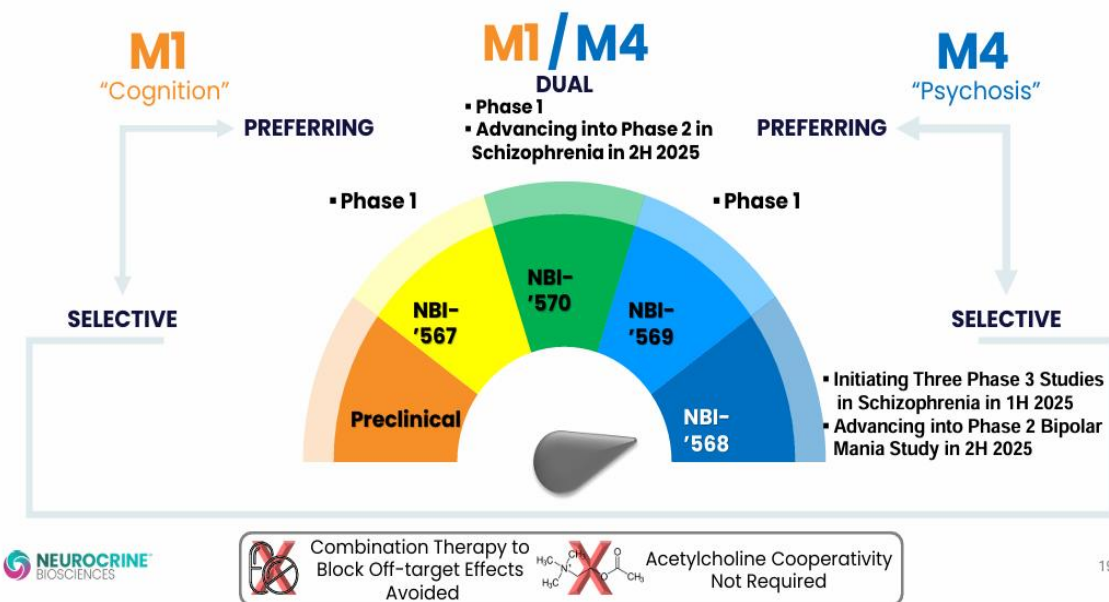
出所: Evaluate Pharma (2025年5月末時点) より当社作成

ムスカリンプログラムの整理

ムスカリンプログラムは4本の候補品が臨床試験中、適応拡大領域にも注目

Muscarinic Platform Includes Multiple Clinical Programs

From M1 to M4 Selective Orthosteric Agonists



プログラム	メカニズム	Phase	次のステップ	拡大領域
NBI'568	M4作動薬	3	統合失調症 双極性障害	アルツハイマー病(>5,000万人) 双極性障害(約4,000万人) レビー小体型認知症(>1,000万人) パーキンソン病(約800万人) 統合失調症(約2,300万人)
NBI'567	M1作動薬	1	-	
NBI'569	M4作動薬	1	-	
NBI'570	M1/M4作動薬	1	統合失調症	

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していく

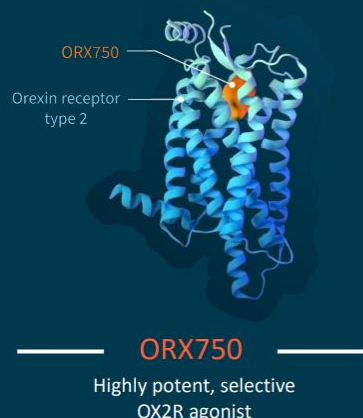


ORX750のポテンシャルは？

Centessaが開発を進めるOX2作動薬ポートフォリオ

2025年中にORX750のP2a試験結果(NT1/NT2/IH)、ORX142のP1試験結果が発表予定
後続にはORX489は精神神経疾患を対象に開発中

ORX750: Potential to Redefine the Standard of Care for Patients with Sleep-Wake Disorders



- **High unmet medical need** in NT1, NT2 and IH
- **Proof-of-concept achieved** and asset clinically **derisked** in Phase 1 study of acutely sleep-deprived healthy volunteers
- **Advancing Phase 2a studies** in patients with NT1, NT2 and IH; **Data expected across all three indications in 2025**
- **Significant commercial opportunity** as potential treatment for all three indications

NT1, NT2, and IH Represent Large Addressable Patient Populations

NT1

~80,000

Prevalent U.S. Patients

- ~50,000 diagnosed and treated today
- Characterized by EDS with cataplexy

NT2

~180,000

Prevalent U.S. Patients

- ~100,000 diagnosed and treated today
- Characterized by EDS (without cataplexy)

IH

~360,000

Prevalent U.S. Patients

- ~120,000 diagnosed and treated today
- Characterized by EDS (without cataplexy), fatigue, sleep inertia

ORX750
Addressable Patient Population
NT1, NT2, and IH

~620,000

Prevalent U.S. Patients

~270,000

Diagnosed and Treated U.S. Patients

ナルコレプシー1/2型(NT1/2)、特発性過眠症(IH)におけるベストインクラス候補のORX750は商業的ポテンシャルが大きい

OX2作動薬ポートフォリオのデータ整理

ORX750はP1b試験において既に良好なデータを報告、年内のP2試験結果公表に期待

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) ¹	0.035	n/a
ORX750¹	0.110	9,800x
ORX142²	0.069	13,000x
ORX489³	0.035	8,800x

MWT Results

Table 1. LS Mean Sleep Latency

	LS Mean (95% CI) Sleep Latency, min			P Value
	ORX750	Placebo	Difference ORX750 - Placebo	
1.0 mg (n=8)	17.6 (12.1, 23.2)	9.6 (4.1, 15.1)	8.1 (0.3, 15.9)	0.04
2.5 mg (n=8)	32.0 (22.2, 41.8)	16.7 (6.9, 26.5)	15.2 (4.7, 25.8)	0.01
3.5 mg (n=10)	33.6 (27.1, 40.1)	13.4 (6.9, 19.9)	20.2 (15.2, 25.2)	<0.0001
5.0 mg (n=8)	37.9 (31.7, 44.0)	15.3 (9.1, 21.5)	22.6 (17.0, 28.2)	<0.0001

CI, confidence interval; LS, least squares.

OX2作動薬の競合データ整理

MWTはP3試験の主要評価項目であり、比較は重要

開発品	Phase	観察 時点	試験 人数	MWT(覚醒維持検査)					ESS					参考
TAK-861 (1日2回)	P2b	week8	112	Placebo	0.5/0.5mg	2.0/2.0mg	2.0/5.0mg	7.0mg QD	Placebo	0.5/0.5mg	2.0/2.0mg	2.0/5.0mg	7.0mg QD	Link
				4.7min	16.5min (11.8min)	27.6min (22.9min)	30.7min (26.0min)	19.5min (14.8min)	-2.5pt	-8.9pt (-6.4pt)	-13.8pt (-11.3pt)	-12.8pt (-10.3pt)	-11.3pt (-8.8pt)	
ORX750 (1日1回)	P1	-	34	Placebo	1.0mg QD	2.5mg QD	3.5mg QD	5.0mg QD	Placebo	1.0mg QD	2.5mg QD	3.5mg QD	5.0mg QD	Link
				9.6-16.7min	17.6min (8.1min)	32.0min (15.2min)	33.6min (20.2min)	37.9min (22.6min)	-	-	-	-	-	
ALKS2680 (1日1回)	P1b	-	10(NT1)	Placebo	1.0mg QD	3.0mg QD	8.0mg QD	-	Placebo	1.0mg QD	3.0mg QD	8.0mg QD	-	
				4.4min	24.8min (20.4min)	29.5min (25.1min)	35.9min (31.5min)	-	-	-	-	-	-	

OX2作動薬の競合データ整理

副作用のデータは、今後の後期試験データの比較が重要

開発品	Phase	観察 時点	試験 人数	Any TEAE (Moderate/Severe)					Insomnia					参考
TAK-861 (1日2回)	P2b	week8	112	Placebo	0.5/0.5mg	2.0/2.0mg	2.0/5.0mg	7.0mg QD	Placebo	0.5/0.5mg	2.0/2.0mg	2.0/5.0mg	7.0mg QD	Link
				31.8% (9.1%/0%)	56.5% (13.0%/0%)	71.4% (23.8%/19.0%)	91.3% (34.8%/8.7%)	91.3% (34.8%/4.3%)	4.5%	21.7%	47.6%	56.5%	65.2%	
ORX750 (1日1回)	P1	-	51	Placebo	1.0mg QD	2.5mg QD	3.5mg QD	5.0mg QD	Placebo	1.0mg QD	2.5mg QD	3.5mg QD	5.0mg QD	Link
				27.0% (0%/0%)	33.0% (0%/0%)	11.0% (0%/0%)	0.0% (0%/0%)	33.0% (0%/0%)	-	-	-	-	-	
ALKS2680 (1日1回)	P1b	-	37	Placebo	1.0mg QD	3.0mg QD	8.0mg QD	-	Placebo	1.0mg QD	3.0mg QD	8.0mg QD	-	
				44.0% (0%/0%)	66.7% (0%/0%)	55.6% (0%/0%)	90.0% (10%/0%)	-	0.0%	0.0%	11.1%	60.0%	-	

当社製品・競合薬の動向(OX2作動薬関連)

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	企業名	モダリティ	適応症	臨床試験	被験者数	終了日	状況	次のステップ
ムスカリンプログラム									
ORX750	OX2作動薬	Nxera/Centessa	低分子	NT1/NT2/IH	NCT06752668	78	2025/12	P2	25年 Readout
ORX142	OX2作動薬	Nxera/Centessa	低分子	神経/神経変性疾患	-	-	-	P1	25年 Readout
ORX489	OX2作動薬	Nxera/Centessa	低分子	精神神経疾患	-	-	-	-	-
TAK-861	OX2作動薬	Takeda	低分子	ナルコレプシー1型(NT1)	The First Light/NCT06470828	168	2025/6/30	P3	25年度1H Readout
				ナルコレプシー1型(NT1)	The Radiant Light/NCT06505031	105	2025/7/3	P3	25年度1H Readout
TAK-360	OX2作動薬	Takeda	低分子	ナルコレプシー2型(NT2)	NCT06952699	40	2026/3/23	P2	
				特発性過眠症(IH)	NCT06812078	40	2026/2/19	P2	
ALKS2680	OX2作動薬	Alkermes	低分子	NT1(4.0mg/6.0mg/8.0mg)	Vibrance-1			P2	25年 Q3Readout
				NT2(10mg/14mg/18mg)	Vibrance-2			P2	25年 Readout
				IH(10mg/14mg/18mg)	Vibrance-3			P2	26年 Readout
ALKS4510	OX2作動薬	Alkermes	低分子	-	-	-	-	-	-
ALKS7290	OX2作動薬	Alkermes	低分子	-	-	-	-	-	-

出所: Centessa, Takeda , Alkermesの説明会資料より当社作成



当社製品・競合薬の動向(OX2作動薬関連)

TAK-861のP3試験の主要評価項目は投与12週後のMWT

Study	NCT06470828
Indication	Narcolepsy Type 1 (NT1)
Phase	Phase III <i>The First Light</i>
# of Patients	N = 168
Target Patients	Participants with Narcolepsy Type 1
Arms/Intervention	- TAK-861 Dose 1 - TAK-861 Dose 2 - Placebo
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Primary: - Change from Baseline to Week 12 in Mean Sleep Latency measured through MWT Key Secondary: - Change from Baseline to Week 12 in Epworth Sleepiness Scale (ESS) Total Score - Change from Baseline to Week 12 in Weekly Cataplexy Rate - Change from Baseline in number of Lapses on the 3 Post Meridiem (PM) Psychomotor Vigilance Test (PVT) Session at Week 12 - Change from Baseline in Patient Global Impression of Change (PGI-C) Score at Week 12 - Change from Baseline in Narcolepsy Severity Scale for Clinical Trials (NSS-CT) Total Score at Week 12 - Change from Baseline in Functional Impacts of Narcolepsy Instrument (FINI) Domain Scores at Week 12 - Change from Baseline in Short Form-36 Survey (SF-36) Mental and Physical Component Scores at Week 12 - Occurrence of at least 1 TEAE during the study including the follow-up period, as applicable.
Study start date	July 2024

Study	NCT06505031
Indication	Narcolepsy Type 1 (NT1)
Phase	Phase III <i>The Radiant Light</i>
# of Patients	N = 105
Target Patients	Participants with Narcolepsy Type 1
Arms/Intervention	- TAK-861 - Placebo
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Primary: - Change from Baseline to Week 12 in Mean Sleep Latency measured through MWT Key Secondary: - Change from Baseline to Week 12 in Epworth Sleepiness Scale (ESS) Total Score - Change from Baseline to Week 12 in Weekly Cataplexy Rate - Change from Baseline in number of Lapses on the 3 Post Meridiem (PM) Psychomotor Vigilance Test (PVT) Session at Week 12 - Change from Baseline in Patient Global Impression of Change (PGI-C) Score at Week 12 - Change from Baseline in Narcolepsy Severity Scale for Clinical Trials (NSS-CT) Total Score at Week 12 - Change from Baseline in Functional Impacts of Narcolepsy Instrument (FINI) Domain Scores at Week 12 - Change from Baseline in Short Form-36 Survey (SF-36) Mental and Physical Component Scores at Week 12 - Occurrence of at least 1 TEAE during the study including the follow-up period, as applicable.
Study start date	Nov 2024

Centessaが開発を進めるOX2作動薬ORX750のP2a試験デザイン

P2試験の副次評価項目にはMWTを含む

Figure 1. Key Eligibility Criteria

Key inclusion criteria



- Aged 18-65 years (inclusive)
- BMI of 17-37 kg/m² (inclusive)
- Meets ICSD-3-TR diagnostic criteria for NT1, NT2, or IH
- Discontinue all medications used to treat narcolepsy or IH

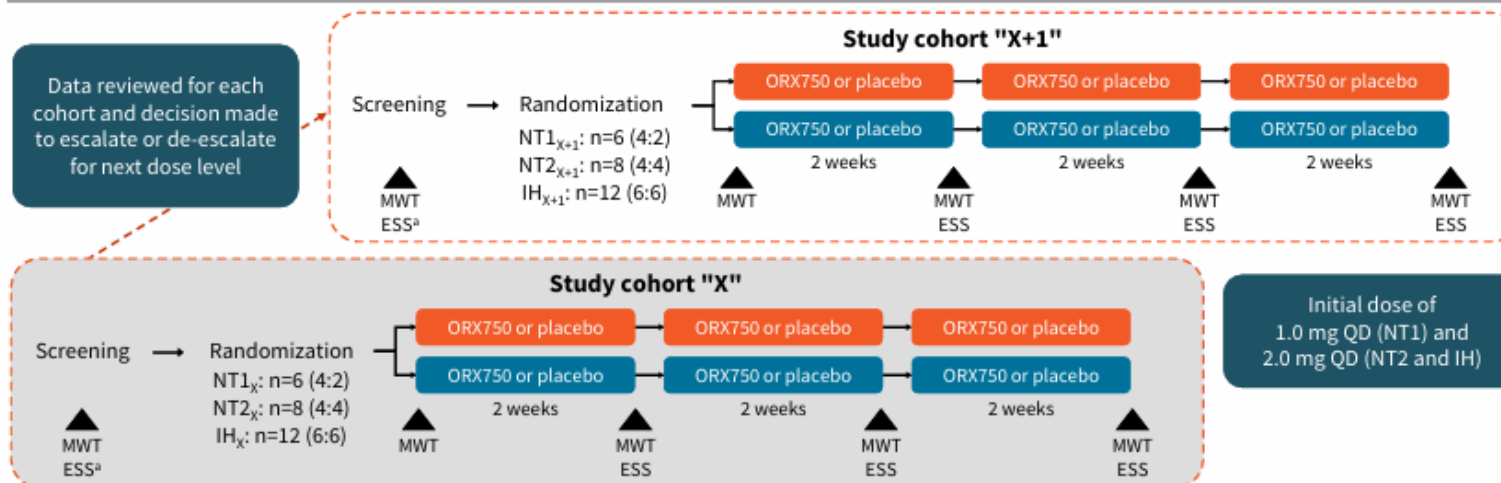
Key exclusion criteria



- Medical disorder associated with EDS other than NT1, NT2, or IH
- Presence of significant cardiovascular, pulmonary, gastrointestinal, hepatic, renal, hematologic, endocrine, neurologic, or psychiatric disease or malignancy

BMI, body mass index; EDS, excessive daytime sleepiness; ICSD-3-TR, International Classification of Sleep Disorders, 3rd edition, text revision; IH, idiopathic hypersomnia; NT1, narcolepsy type 1; NT2, narcolepsy type 2.

Figure 2. CRYSTAL-1 Study Design



Study design is for illustrative purposes only.

*Baseline MWT and ESS assessments are conducted after washout of medications used for narcolepsy or IH.

ESS, Epworth Sleepiness Scale; IH, Idiopathic Hypersomnia; MWT, Maintenance of Wakefulness Test; NT1, narcolepsy type 1; NT2, narcolepsy type 2; QD, once daily.

Figure 3. Key Endpoints

	Primary endpoints	Safety and tolerability
	Secondary endpoints	- Pharmacokinetic parameters of ORX750 - Efficacy on measures of excessive daytime sleepiness: - Objective: Maintenance of Wakefulness Test (MWT) - Subjective: Epworth Sleepiness Scale (ESS)
	Exploratory endpoints	- Weekly cataplexy rate (NT1 only) - Narcolepsy Severity Scale (NSS/NSS2) or Idiopathic Hypersomnia Severity Scale (IHSS) - Karolinska Sleepiness Scale (KSS) - Additional efficacy assessments of cognition, attention, memory, and general health

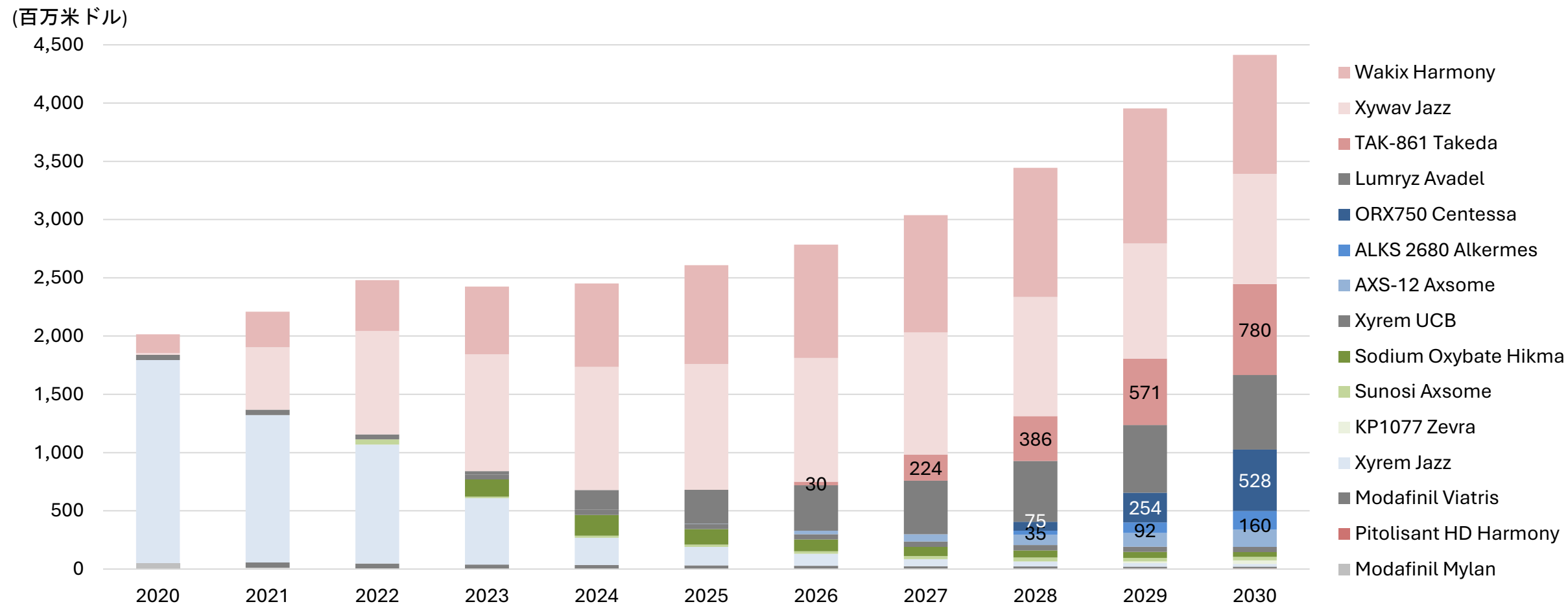
NT1, narcolepsy type 1.

CURRENT STATUS AND FUTURE DIRECTIONS

- The CRYSTAL-1 study is currently recruiting at participating sites in the United States, Canada, and the European Union
- Data from this study are expected in 2025
- This will be the first time ORX750 is evaluated in participants with NT1, NT2, and IH, and the results will inform future clinical studies

ナルコレプシーに対する開発品の売上予想

ナルコレプシーの市場規模は2030年には40億米ドルを超えると予想



出所: Evaluate Pharma (2025年5月末時点) より当社作成

NXE0039732/EP4拮抗薬のポテンシャルは？

当社製品・競合薬の動向(Ep4拮抗薬→がんへの攻撃を再開させる)

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	企業名	モダリティ	適応症	臨床試験	被験者数	終了日	状況	次のステップ
Ep4拮抗薬									
NXE0039732	EP4拮抗薬	Nxera	低分子	がん 結腸直腸癌(MSS CRC)、胃食道癌、頭頸部扁平上皮癌(HNSCC)、mCRPC、膵臓癌、肺癌、膀胱癌、中皮腫、子宮頸癌、腎癌、肉腫、褐色細胞腫	NCT05944237	150	2026-09	P1/2	P2パートへ移行
ONO-4578	EP4拮抗薬	小野薬品	低分子	HER2陰性胃がん,未治療(日韓台)	NCT06256328	210	2025/11/30	P2	25年度データ取得
				結腸・直腸がん	NCT06547385	40	2027/10/31	P1	
				PD-L1陽性大腸がん(日・米)、未治療	NCT06948448	144	2028/02/15	P2	27年度データ取得
				非小細胞肺がん	NCT06542731	42	2026/09/12	P1	26年度データ取得
				ホルモン受容体陽性HER2陰性乳がん	NCT06570031	46	2025/07/31	P1	25年度データ取得
CR6086	EP4拮抗薬	Rottapharma	低分子	結腸・直腸がん	NCT05205330	107	2026/12	P1/2	

出所：小野薬品工業、Rottapharma資料より当社作成

大腸がん(CRC)における臨床結果の整理

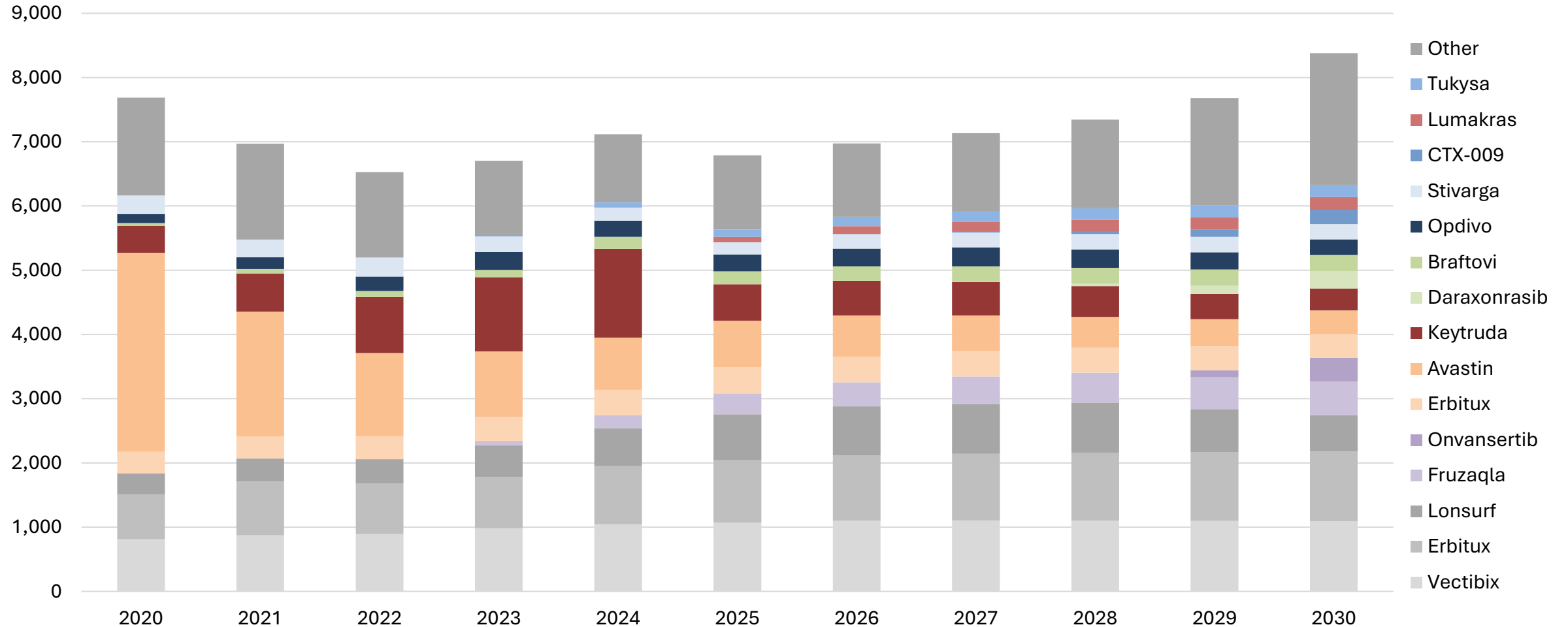
試験	ORR, DCR(%)	PFS(month)	OS(month)
CORRECT, CRC 3L, P3 ¹⁾ Regorafenib vs Placebo	ORR: 1.0 vs 0.4 DCR: 41 vs 15	Median: 1.9 vs 1.7 HR: 0.49	Median: 6.4 vs 5.0 HR: 0.77
RECOURSE, CRC 3L, P3 ²⁾ TAS102 vs Placebo	ORR: 1.6 vs 0.4 DCR: 44 vs 16	Median: 2.0 vs 1.7 HR: 0.48	Median: 7.1 vs 5.3 HR: 0.68
Imblaze 370, CRC 3L, P3 ³⁾ Atezolizumab+Cobimetinib vs Regorafenib	ORR: 3 vs 2 DCR: 26 vs 34	Median:1.91 vs 2.00 HR: 1.25	Median:8.87 vs 8.51 HR: 1.00
Imblaze 370, CRC 3L, P3 ³⁾ Atezolizumab vs Regorafenib	ORR: 2 vs 2 DCR: 21 vs 34	Median:1.94 vs 2.00 HR: 1.39	Median:7.10 vs 8.51 HR: 1.19
LEAP 005, CRC 3L, P3 ⁴⁾ Pembrolizumab + Lenvatinib	ORR: 10.4 DCR: 63.1	Median: 3.8 vs 3.3 HR: 0.69	Median: 9.8 vs 9.3 HR: 0.83
CRC 3L, P1 ⁵⁾ Pembrolizumab + Favezelimab	ORR: 6.3 (All comer) ORR: 11.1 (CPS $\geq$ 1) DCR: 25.4 (All comer) DCR: 36.1 (CPS $\geq$ 1)	Median:2.1 (All comer) Median: 2.2 (CPS $\geq$ 1)	Median: 8.3 (All comer) Median: 12.7 (CPS $\geq$ 1)
SUNLIGHT, CRC 3L, P3 ^{6) 7)} TAS102+Bev vs TAS102	ORR: 6.3 vs 0.9 DCR: 76.6 vs 47.0	Median: 5.6 vs 2.4 HR: 0.44	Median: 10.8 vs 7.5 HR: 0.61
FRESCO-2, CRC 4L, P3 ⁸⁾ Fruquintinib vs Placebo	ORR: 1.5 vs 0 DCR: 55.5 vs 16.1	Median: 3.7 vs 1.8 HR: 0.32	Median: 7.4 vs 4.8 HR: 0.66
CRC 3L or later, P1 ⁹⁾ Nivo+ONO-4578	ORR: 3.9 DCR: 39.2	Median: 1.54	Median: 10.68

- 1) Lancet. 2013 Jan 26;381(9863):303-12.
- 2) N Engl J Med 2015;372:1909-19.
- 3) Lancet Oncol. 2019 Jun;20(6):849-861.
- 4) ESMO 2023. Abstract LBA-5.
- 5) ESMO Open. 2022;7(6):100639
- 6) N Engl J Med 2023;388:1657-67.
- 7) ASCO GI 2023 Abstract 4.
- 8) Lancet. 2023;402(10395):41-53.
- 9) J Clin Oncol. 2024;42. Abstract 93.



大腸がん(CRC)の市場規模

(百万米ドル)



出所: Evaluate Pharma (2025年5月末時点)より当社作成

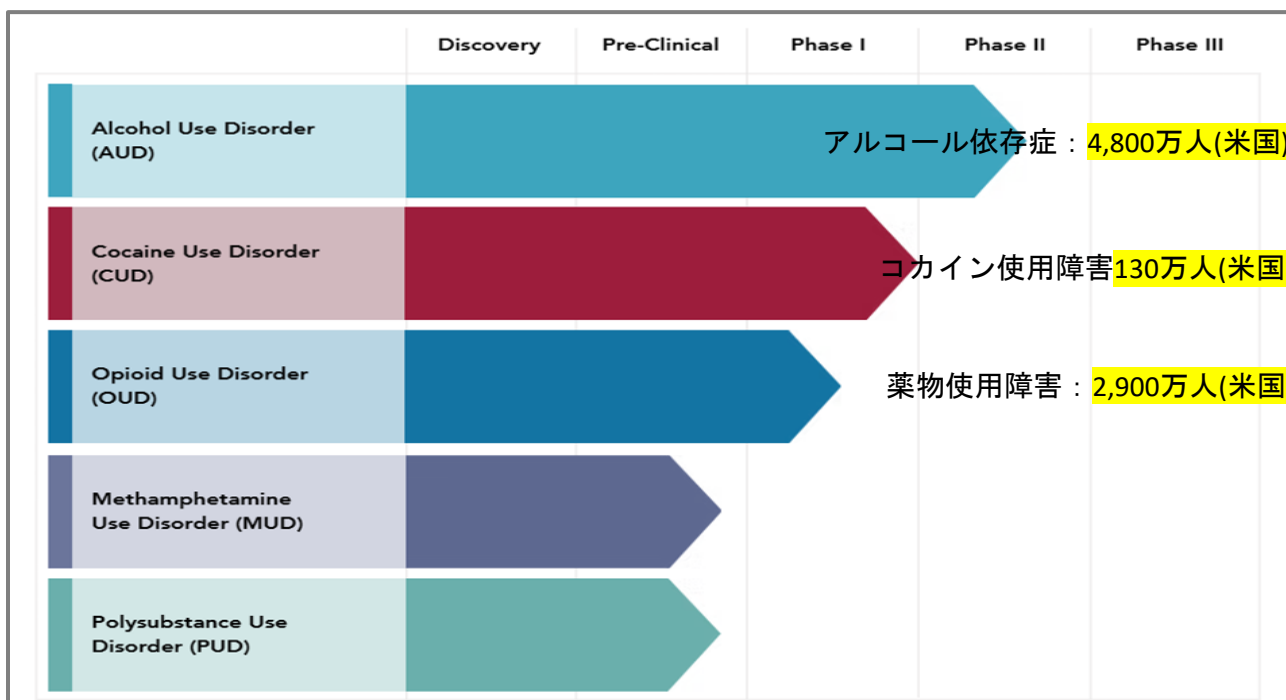
TMP-301のポテンシャルは？

TemperoBio社が開発を進めるmGlu5 NAM TMP-301 →TMP-301はアルコール使用障害に対するP2試験を実施中



経済条件:

ロイヤリティ: 1桁半ばから後半, 契約年: 2020年



- Timpero BioはシリーズBで\$70Mの資金調達を実施(2025年3月24日)、本資金調達でTMP-301のP2試験以降の開発資金を確保
- アルコール依存症に対するP2試験、コカイン依存症に対するP1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P2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

競合薬の動向(TMP-301関連)

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	企業名	モダリティ	適応症	臨床試験	被験者数	終了日	状況	次のステップ
mGlu5 NAM									
TMP-301	mGlu5 NAM	Nxera	低分子	アルコール依存症	NCT06648655	100	2025/11/15	P2	25年中に結果公表
				コカイン依存症	NCT06648668	18	2025/05/05	P1	25年中に結果公表
				オピロイド依存症	-	-	-	-	-
STP7/mavoglurant	mGlu5	Stalicia	低分子	コカイン依存症	NCT06273540	21	2024/10/07	P1	
					NCT03242928	68	2019/12/16	P2	
		Stalicia/NIDA		アルコール依存症	NCT03327792	34	2023/7/13	P1	
					NCT06136195	63	2026/5/31	P2	
					NCT05203965	80	2026/7/31	P1	
					-	-	-	P3	2025年開始見込み

- mGluR5は、依存症の病態生理学における役割だけでなく、気分障害や脆弱Xや自閉症スペクトラム障害など神経発達障害にも関与
- ノバルティス社によるSTP7(mavoglurant)の臨床試験はこれまでに1800人以上の成人を対象に使用

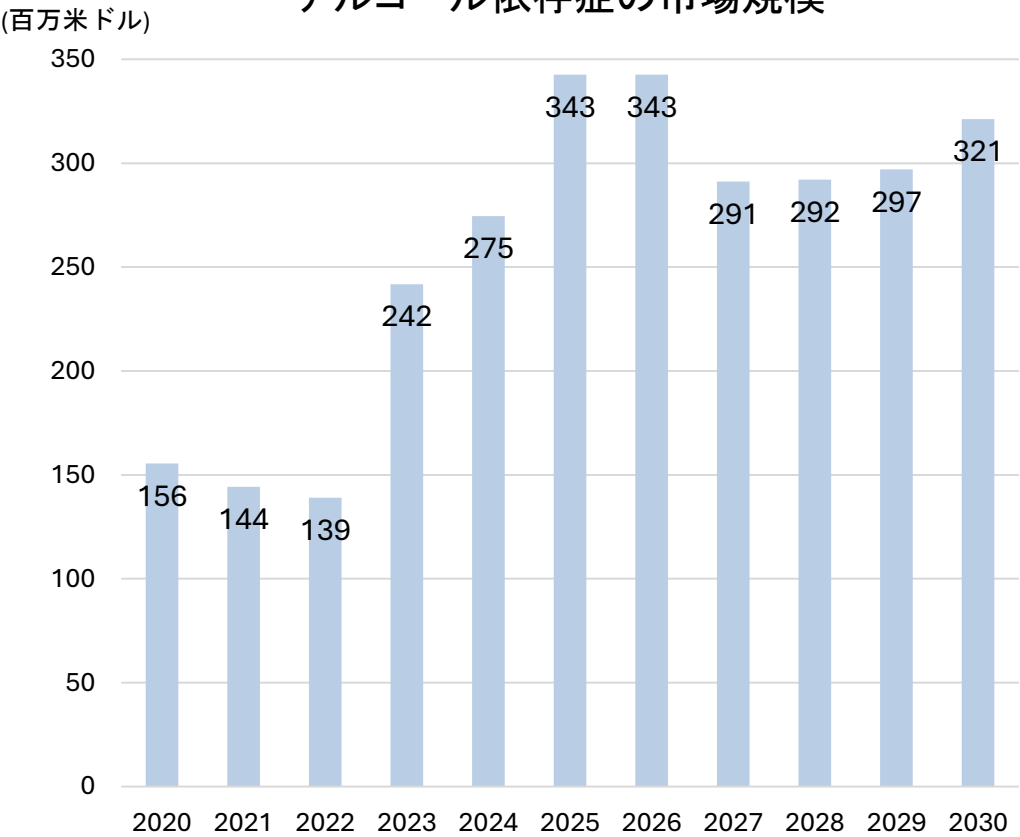
P2試験結果(mavoglurant)

尿中コカイン代謝物濃度は、プラセボよりもmavoglurant治療群の方が低い(P = 0.025)

アルコール消費量がmavoglurant治療群で減少(P = 0.072)。

アルコール依存症・コカイン依存症の状況整理

アルコール依存症の市場規模



➤ 市場規模は現時点では小さい、新薬はほぼない

コカイン依存症のパイプライン

製品名/ 開発コード	ターゲット/作用機序	企業名	適応症	臨床試験	被験者数	試験終了/予定
TMP-301						
TMP-301	mGlu5 NAAM	TemperoBio	コカイン依存症	NCT06648668	18(P1)	2025/05/05
mavoglurant	mGlu5 NAAM	Stalicta	コカイン依存症	NCT03242928	68(P2)	2019/12/16
TNX-1300	不明	Tonix	コカイン依存症	NCT06045793	36(P2)	2025/03/31
EMB-001	GABA A agonist	Embera	コカイン依存症	NCT04501874	82(P2)	2022/07/27
OMS-405	PPAR-gamma agonist	Omeros	コカイン依存症	NCT01395784	32(P2)	2014/01
OMS527	PDE7 inhibitor	Omeros	コカイン依存症	不明(P1)	-	-
VVZ-2471	不明	Vivozon	コカイン依存症	不明(P1)	-	-

➤ 新薬はなく、実際に臨床試験が進行中の候補は3つ程度か

出所: Evaluate Pharma (2025年5月末時点)より当社作成

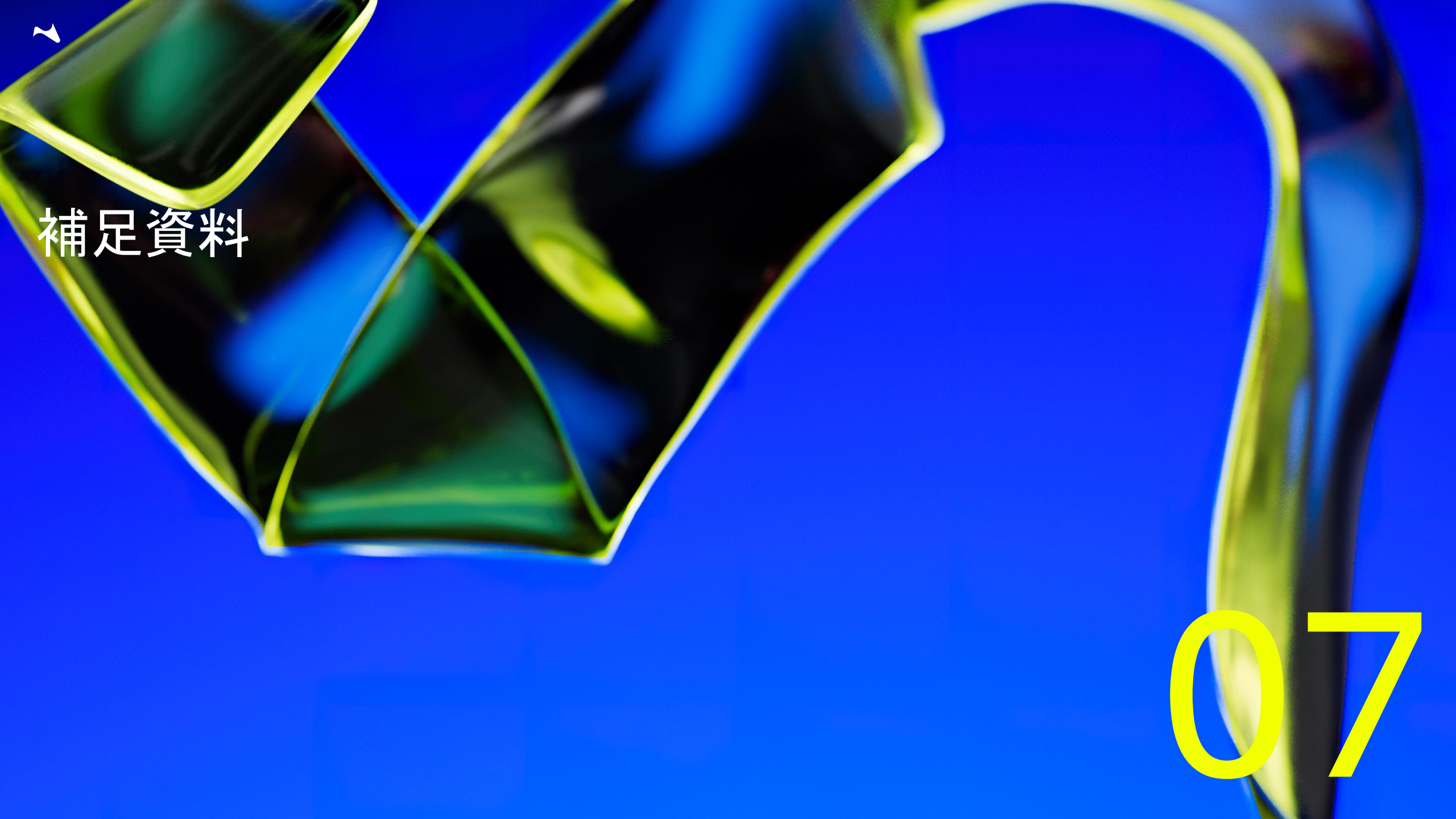


質疑応答

05

質疑応答でご注意いただきたいこと

- 事前に頂いている質問にまずは優先的に答えさせていただきます。そのあとで質疑応答を実施させていただきます。
- 時間を有効に使うべく、ご質問はお一人様、1回につき1トピックでお願いします。質問については何卒、簡潔にお願いできればと思います。
同じトピック内であれば、私の回答への再質問は何度でも歓迎です。
別のトピックのご質問は、再度の挙手をお願いします
- バイオテック業界全体に関する質疑も可能な限り受け付けたいと思いますが、当社以外の個社への具体的なご質問はご遠慮ください

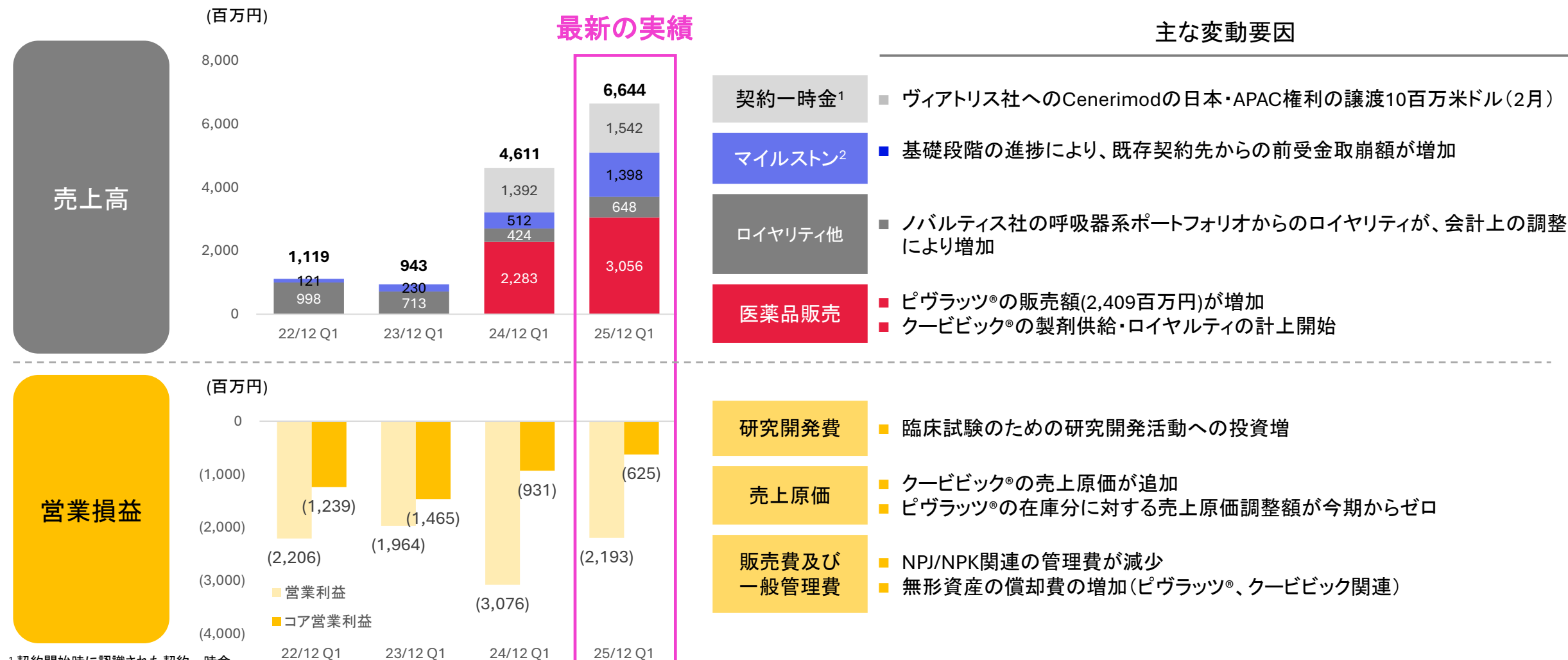


補足資料

07

主要決算数値

NPJ/NPKの製品販売が加算。販管費のコントロールにより営業損益は改善



¹ 契約開始時に認識された契約一時金

² マイルストーン達成時に認識されたマイルストーン収入＋前受金取崩額

決算のブレイクダウン

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

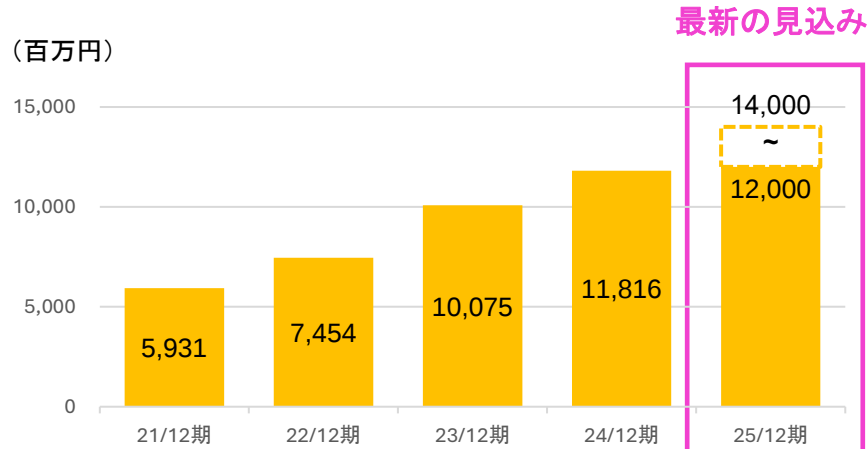
(百万円)	 プラットフォーム*1		 コマーシャル*2		連結損益（コア）		ノンコア費用		連結損益（IFRS）	
	(対前年同期比)		(対前年同期比)		(対前年同期比)				(対前年同期比)	
売上収益	2,046	-12%	4,598	+101%	6,644	+44%	合計：1,568		6,644	+44%
売上原価	631	+332%	968	+191%	1,599	+234%			1,615	+36%
販管費	1,189	+17%	1,296	-13%	2,485	-1%	A 償却費 (447) B その他 (785)		3,701	+1%
研究開発費	3,178	+27%	294	-21%	3,472	+21%	B その他 (336)		3,808	+20%
その他収益	293	-24	(6)	-6	287	-30			287	-30
営業損益	(2,659)	-1,637	2,034	+1,943	コア営業損益 (625)	+306			営業損益 (2,193)	+883

- A 主にピヴラッ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 (旧そー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

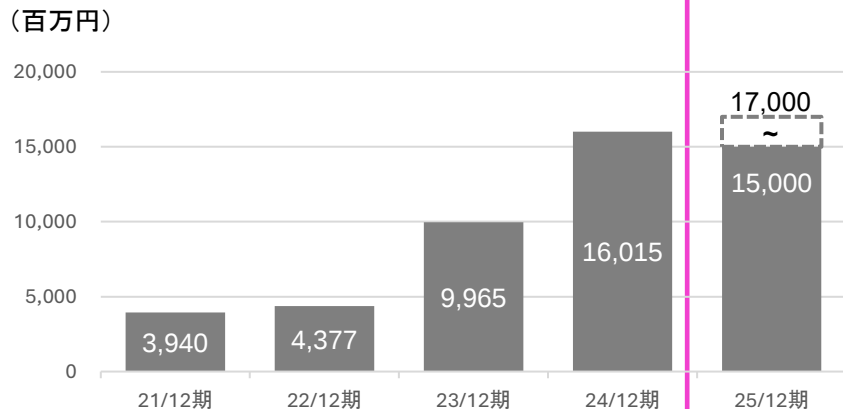


研究開発費(IFRSベース)

12,000百万元～14,000百万元

主なポイント

- プラットフォーム技術に引き続き投資
- 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)

15,000百万元～17,000百万元

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

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							
ウルティブロ®	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	 VIARTIS™							
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							
PF-06954522	GLP-1作動薬	低分子	慢性的な体重管理	 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®, ウルティブロ®, 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。

Ğvā 8ĹG CĀĀžũ ėũĀ ĩũ ģ°ũ 9ĴG CĀĀžũ ĩũ ĩũ ģ°ũ

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											
ピヴラッツ®	ETA 拮抗薬	低分子	脳血管攣縮	NXera							
クービビック®	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1/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。

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	2024-09-27	NCT05545111	-
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	27	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2025-04-16	NCT05549323	NCT06327880 NCT04388878 NCT07009353
導出	PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	26	No	2024-12-11	2025-02-20	2025-03-07	NCT06706869	NCT04628793 NCT05113940
導出	PF-06954522	GLP-1 作動薬	2型糖尿病/肥満	Ph1	45	Yes	2024-02-20	2025-04-07	2025-02-13	NCT06279234	NCT06393517 NCT06003777
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	アルコール依存症	Ph2	100	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2025-02-21	NCT06648655	-
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	コカイン依存症	Ph1	18	Yes	2025-01-04	2025-08-15	2025-03-25	NCT06648668	-
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	2024-04-15	NCT06752668	-
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	2025-05-25 2025-05-29	NCT05648500 NCT05672576	NCT06475742
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-06-07	2025-11-15	2024-09-23	ISRCTN44913564	ISRCTN17231793
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	150	Yes	2023-07-13	2026-09	2024-12-02	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)



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	APAC地域 (中国を除く) ¹
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髄疾患	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*	

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
ピヴラッツ®	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) (百万円)

	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)の細胞内での分解を促進し、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、作動物資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、作動物資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ン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ド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	プロスタグランジン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