



個人投資家説明会

2024年6月26日

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す重要な要因として、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。

- 01 バイオセクター概要
- 02 当社の概要
- 03 今後の展望
- 04 質疑応答

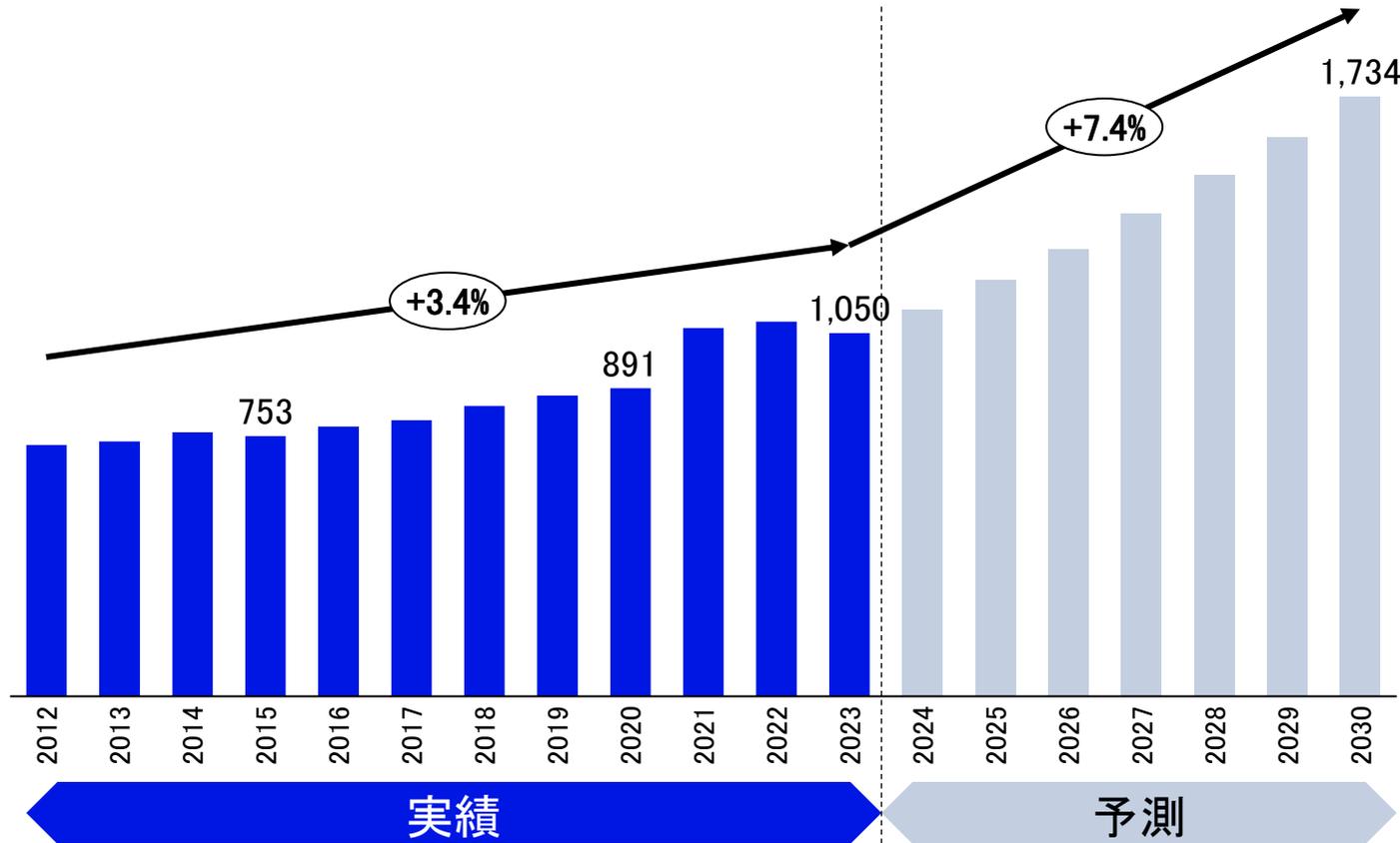
バイオセクター概要

01

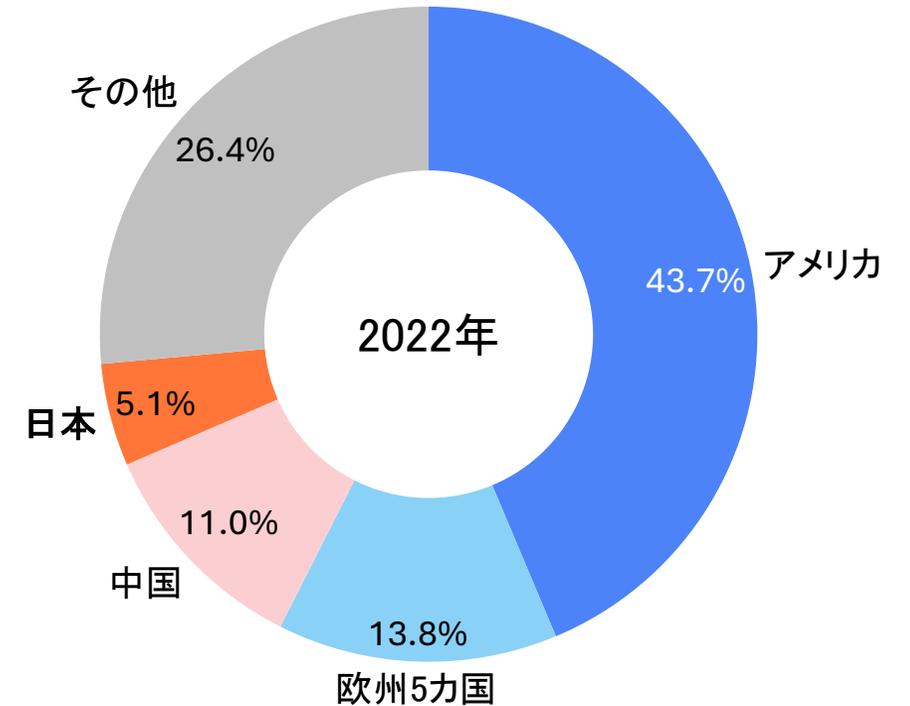
世界の医薬品市場

医療用医薬品市場は連続的に成長している。国別では米国の市場規模が大きい

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

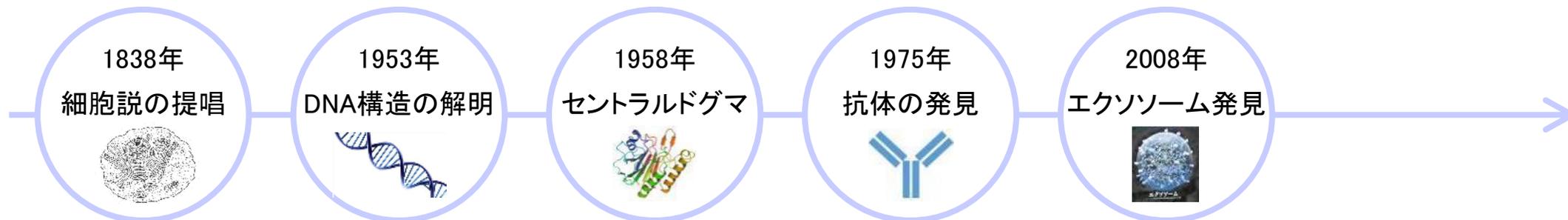


出所: Evaluate(市場規模推移), Copyright © 2024 IQVIA. IQVIA World Review, Data Period 2022をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)(国・地域別市場規模)
 出典: 日本製薬工業協会 DATA BOOK 2024

バイオ産業の発展の歴史

生命科学の歴史の発展とともに、1980年代から一つの新しい産業が立ち上がった

基礎の発見



応用技術



バイオ産業



*ヒトインスリン製剤 **ナスダック・バイオテクノロジー・インデックス/バイオ企業を対象とした株式指数

世界初のバイオ医薬品

ヒトインスリンは1980年代に誕生し、今も商業的に成功し続けている

写真1



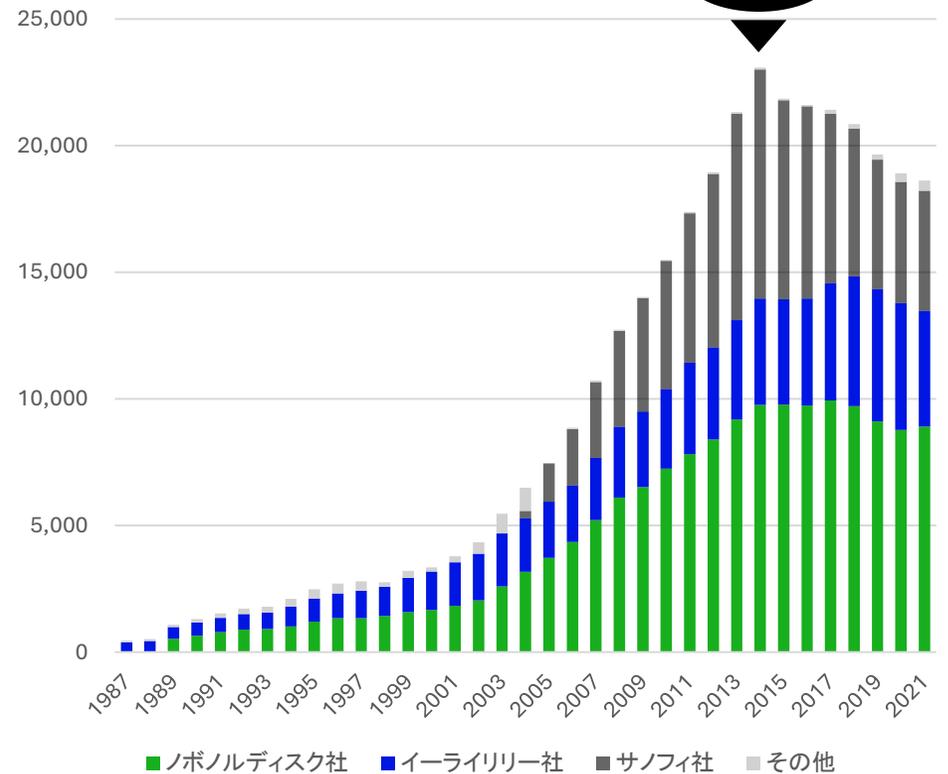
1922年当時のアイレチン製造のために必要であったブタ膵臓の山。この膵臓の山から手前のボトル1本分のインスリンしか抽出できなかった。

「ジェネテック—遺伝子工学企業の先駆者」は、先駆者的な遺伝子工学企業の物語である。この企業は、新しい産業部門をもたらし、その後の生物医学と商業の展望を一変させた。ジェネテックの成功は、現在では世界のバイオテクノロジー産業の象徴となっており、産業界の一つの伝説を裏づけているようにも思われる。その伝説は、ジェネテックの業績やこの会社によって育まれた産業は、単純に説明のつく、起きるべくして起きた当然の出来事だったというものである。こうした考え方は、事実からほど遠いものだ。

ジェネテックは、最初はどんな尺度から見ても、様々な困難に出会うことが予想される見込みのない企業だった。この会社は、カリフォルニア大学サンフランシスコ校の微生物学教授だったハーバート・ポイヤート、失業中のベンチャー投資家だったロバート・スワンソンという二人の純真な起業家のきわめて稀な先見の明のもと、一九七六年の春に設立された。ジェネテックという社名は遺伝子工学技術 (genetic engineering technology) を縮めたものであり、まったく新しい組み換えDNA技術を応用して細菌を操作し、インスリンや成長ホルモンといった重要な医薬品を作成するという、同社の驚くべき指針を表していた。しかし、この技術を産業プロセスとして利用することはもちろん、事業を

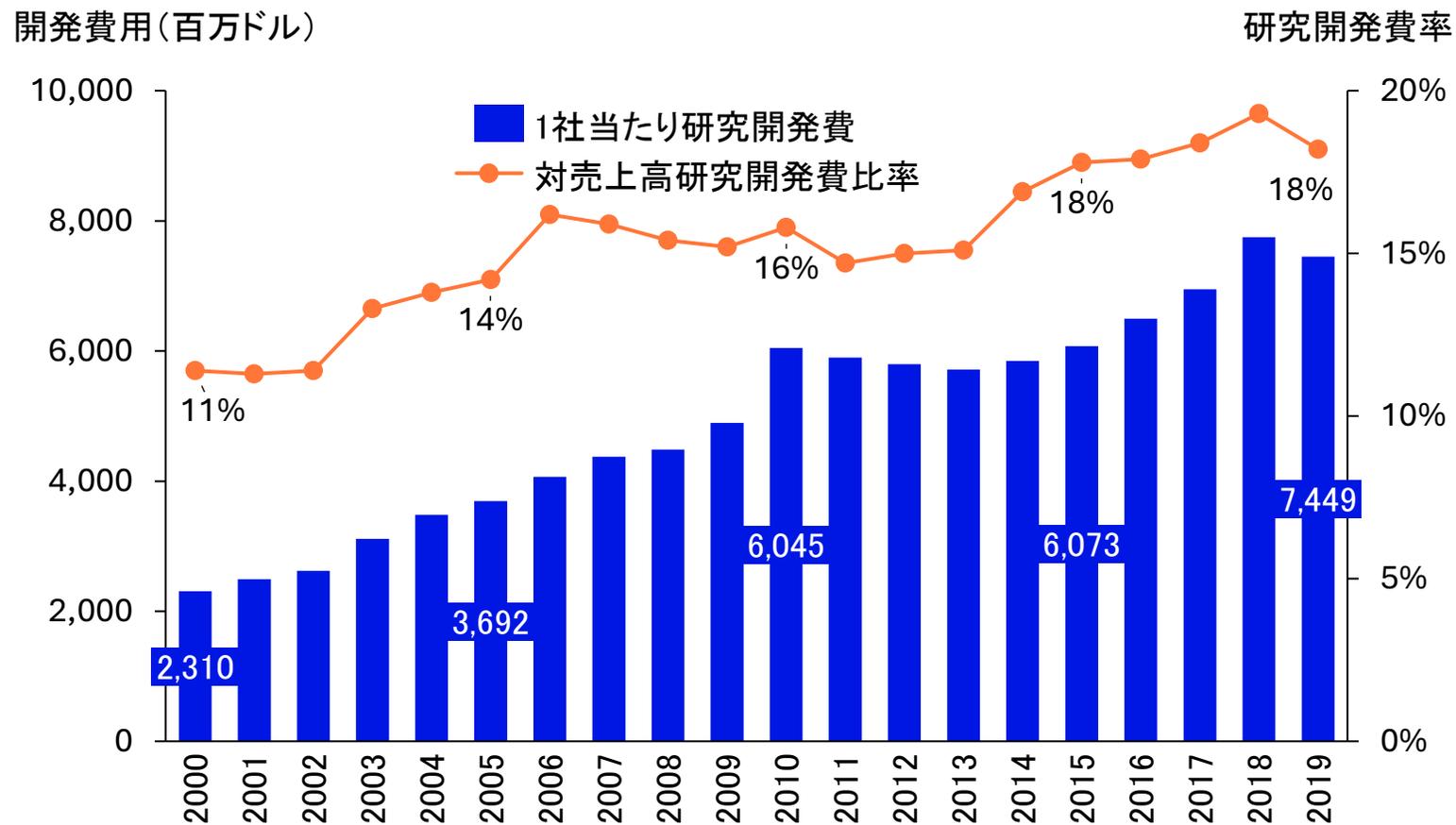
インスリン製剤の売上高推移

売上高 (M\$)



研究開発投資の強化

従来の手法で創薬可能な”Low Hanging Fruit”が減少しており、特徴的な創薬を行うバイオ企業との提携も活発化

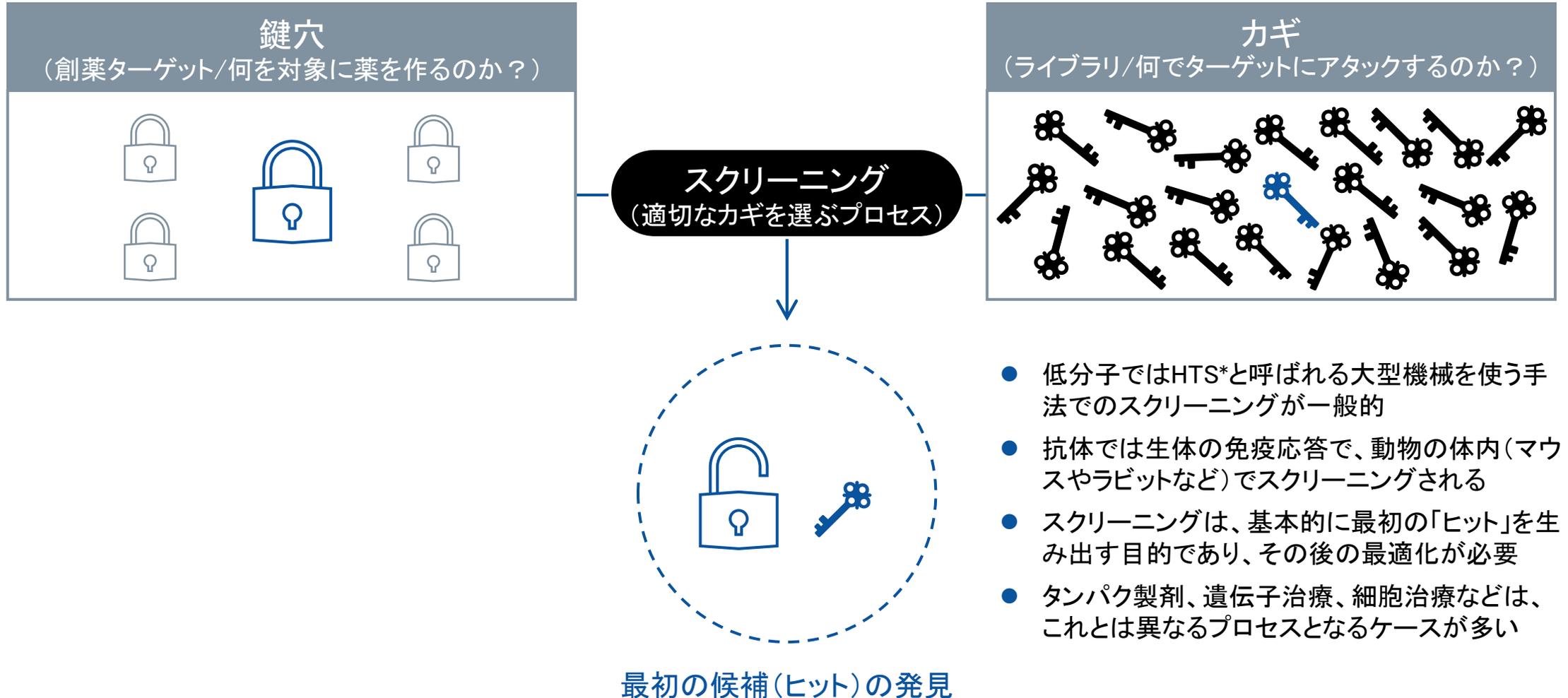


- 開発が難しくなってきたことで、イチから自前でやる際の費用・リスクが増大
- その結果大手製薬企業は、ベンチャーや大学などから良い製品・開発品を積極的に導入

出所: 医薬品産業ビジョン2021 資料編(厚生労働省)より当社作成。米国企業のためのデータ

そもそも薬はどうやって見つけるのか？

創薬の基礎研究は、鍵穴(創薬ターゲット)とカギ(薬の候補)の関係に例えることができる



*High-Throughput Screening/機械を使い、高速で鍵穴に対して合うカギを実験する方法。ただ、ライブラリの数が多い場合(～数百万)には数か月程度の時間が必要

創薬ベンチャーのアプローチいろいろ

独自技術を持つ創薬ベンチャーでは、例えば以下のような方法でアプローチを試みている

創薬の課題

創薬ベンチャーによる具体的なアプローチの例

正しい鍵穴が見つからない



誰よりも早く正しい
鍵穴を見つける

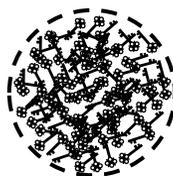


- 大学などとの共同研究や、未公開の研究成果をもとに、他社に先んじて創薬ターゲット(鍵穴)を発見する
- AIやマシンラーニングなどを駆使し、既存の膨大な研究成果から、まだ世の中で気づかれていない創薬ターゲット(鍵穴)を発見する

よいカギが見つからない



カギの種類を変える
カギを大量に用意



- これまでと異なる(種類の多い)ライブラリーや新たなモダリティ(新たなカギの種類)を生み出し、これまでに無いカギを発見する
- カギの数が増えれば、物理的にスクリーニングの手間も増えることが多いため、スクリーニングを効率化する技術とセットで開発されるケースが多い

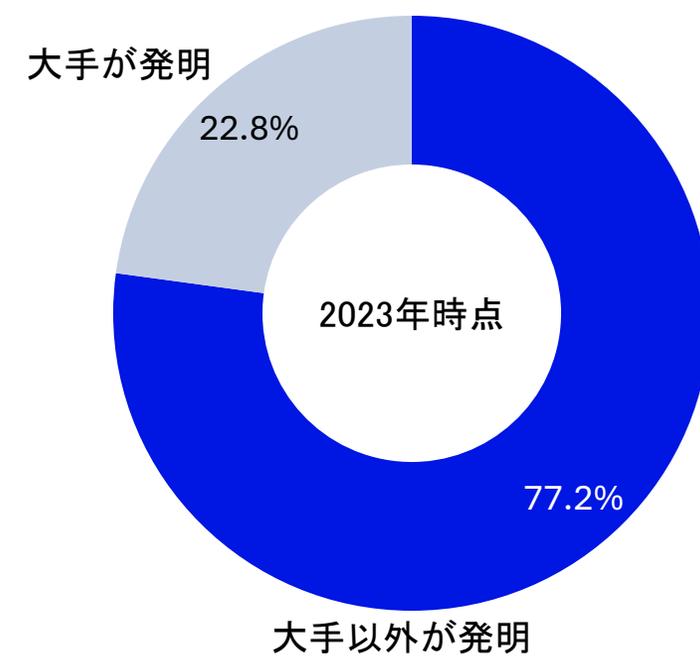
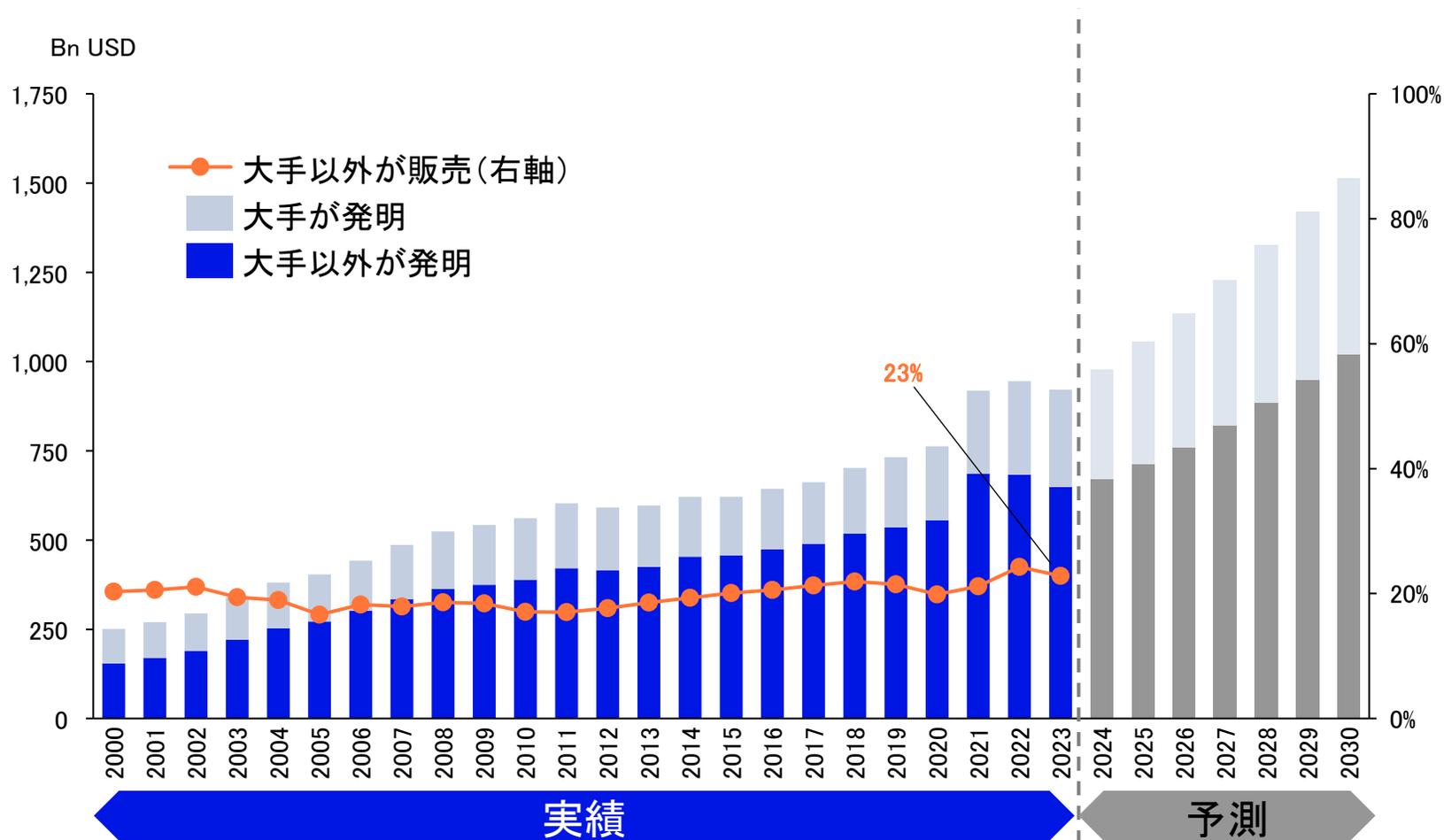
鍵穴の形を分析して
カギを生み出す



- 創薬ターゲットの詳細な立体構造(鍵穴の形)をまずハッキリさせ、それに合ったカギをコンピューター上でデザイン/スクリーニングする
- 立体構造(鍵穴の形)が分かりにくい/壊れやすいターゲットも多く、その場合には別技術との組み合わせで構造を安定化し、解析を行う

バイオ企業が薬の7割を発明している

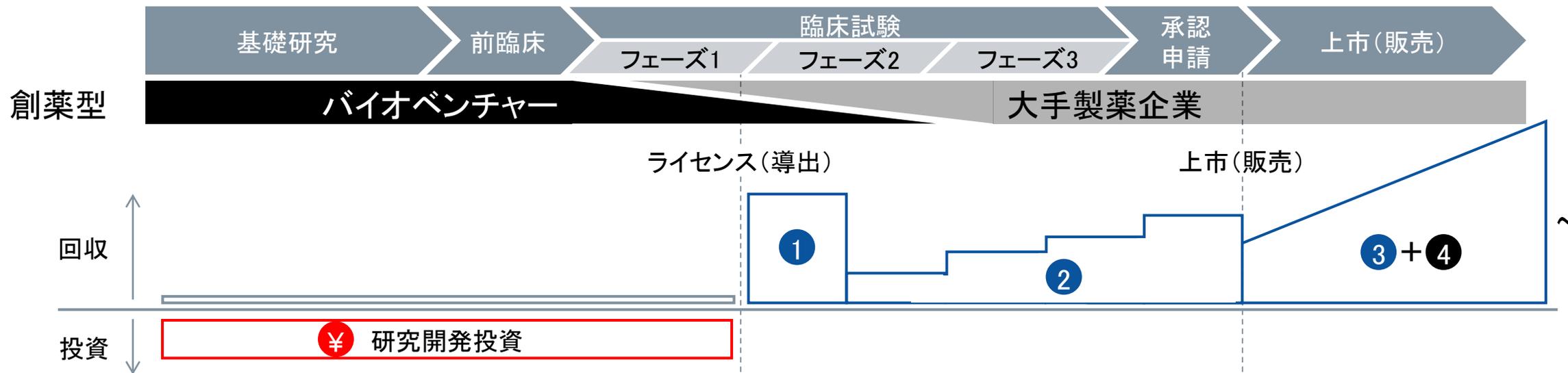
市場で販売される医薬品の7割以上が、元は大手以外の企業(≡バイオ企業)が発明したものの



*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

プラットフォーム型のビジネスモデル

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%)	
+ 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・リターンの特徴の違う、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

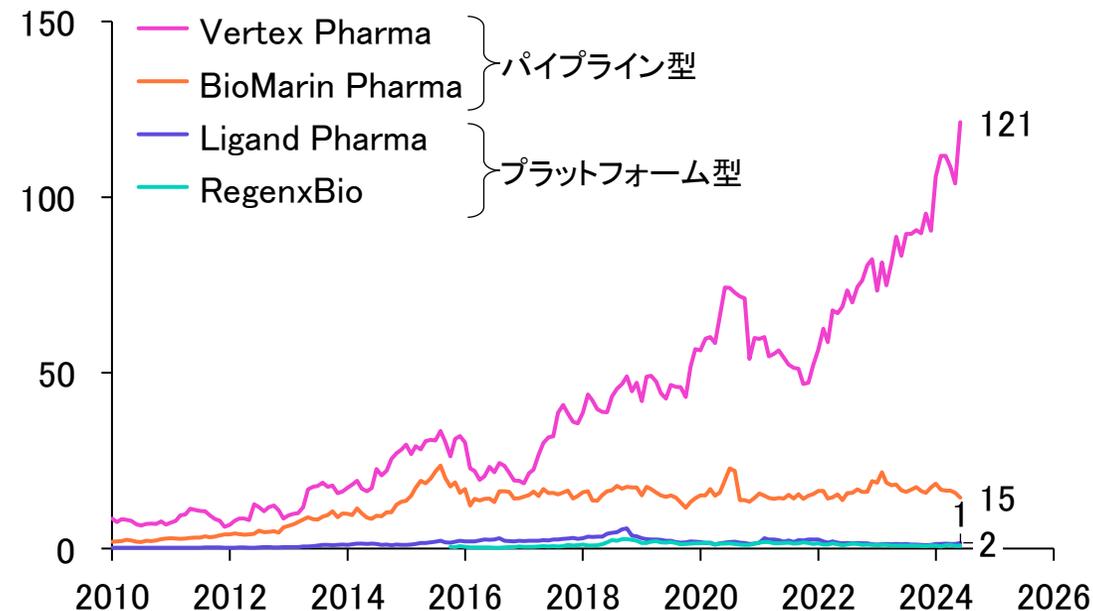
開発コスト

導出後は導出先負担

自社負担

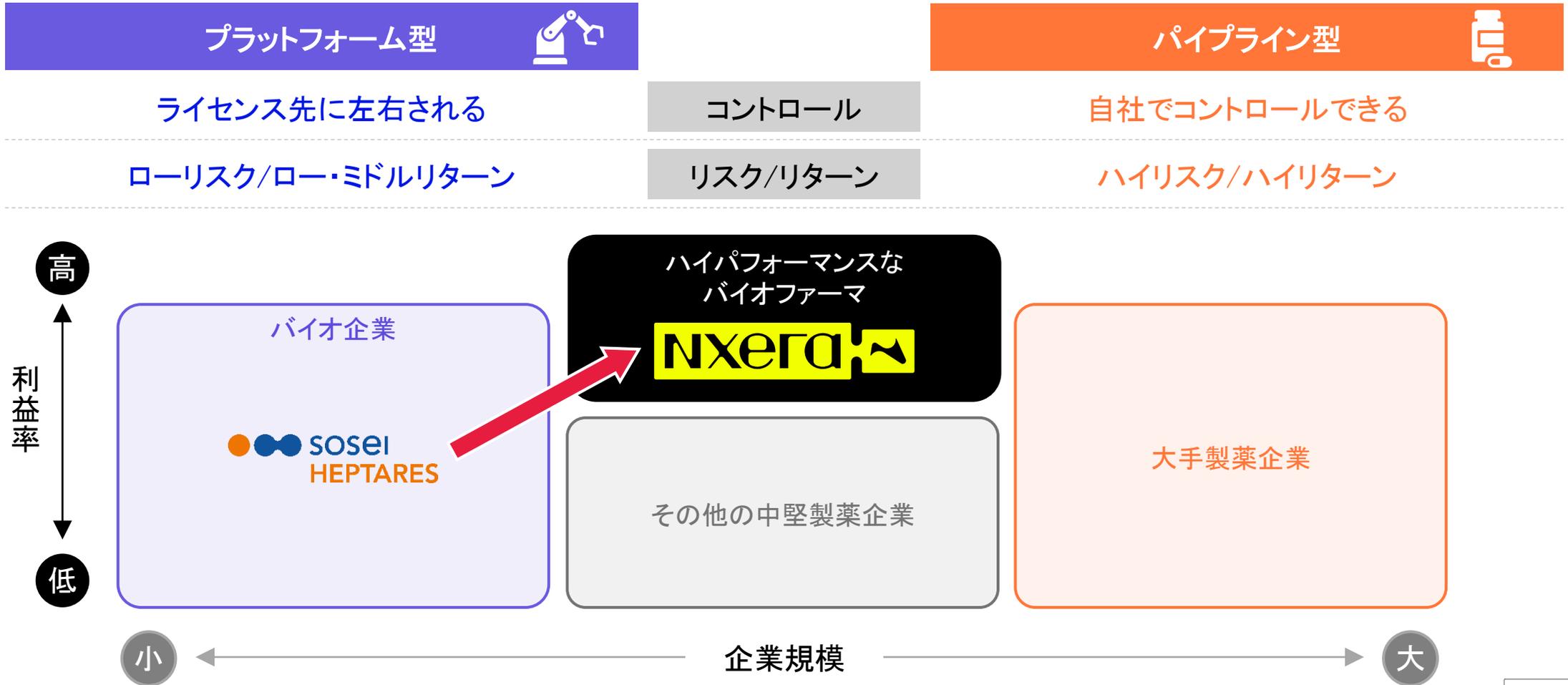
成功時の評価

時価総額
(十億ドル)



ネクセラの目指すポジション(1)

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



ネクセラの目指すポジショニング(2)

プラットフォーム型、パイプライン型の事業が卓越した強みを発揮。加えて両者間のシナジーにより、効率化を図る

プラットフォーム型



最先端のテクノロジーで
高い創薬効率、より良いディール

世界的なパートナー



Genentech
A Member of the Roche Group



abbvie



パイプライン型



自社・ライセンスを問わず
患者様のアンメットニーズに応える

強固な製品・後期開発品



＋多くのライセンス機会

当社の概要

02

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

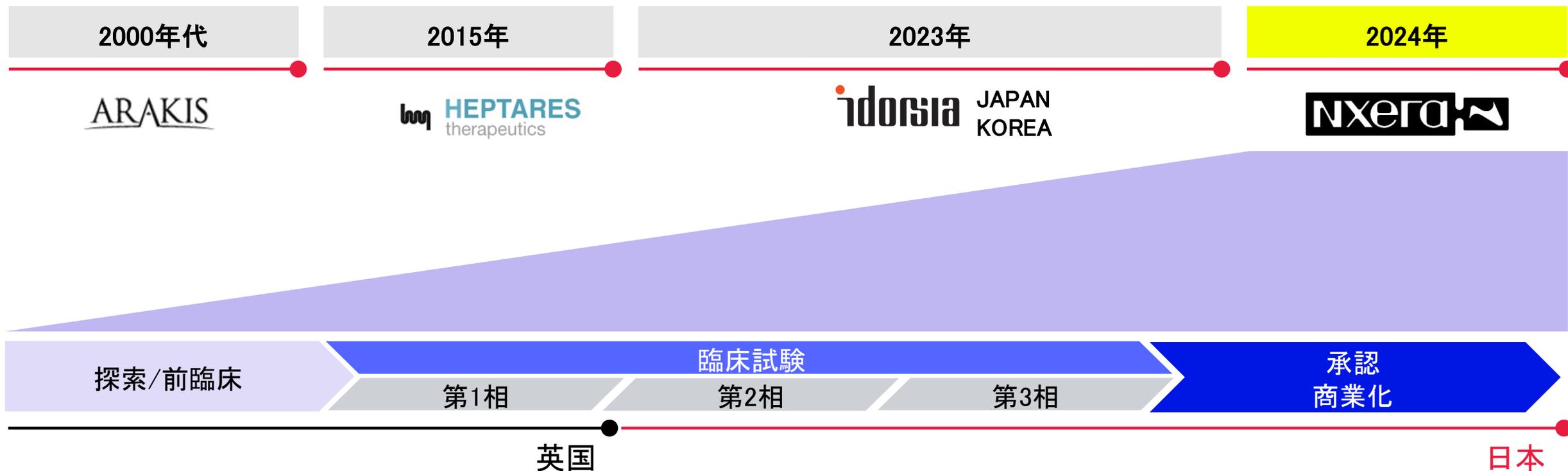
「Next(次の)」
+
「Era(時代)」

「ネクセラの“N”」
+
「タンパクの構造」

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

日本発のバイオフーマを構築中

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



ネクセラファーマの概要

最先端技術による革新的な創薬、アンメットニーズに合致した製品販売で、患者さまの人生をより良くしていく

最先端技術によるデザイン創薬

GPCR創薬、構造ベース創薬の世界的リーダー

GPCRに特に注力し375以上の分子構造を解明

30以上のプログラムが、10以上のグローバルパートナーと進行中



中枢神経
39%



消化器
33%



免疫
9%



その他
18%

アンメットニーズに対する優れた効果

日々患者さまの命を救う、救急神経領域の医薬品を販売

10,300名以上の患者さまが当社製品のピヴラツ®を処方されており、そのほかにも4製品が提携先から販売されている



TSE: 4565

東京証券取引所プライム市場



350名以上の従業員



世界中で5つの拠点

東京、ケンブリッジ、ロンドン、ソウル、バーゼル



継続的な収益

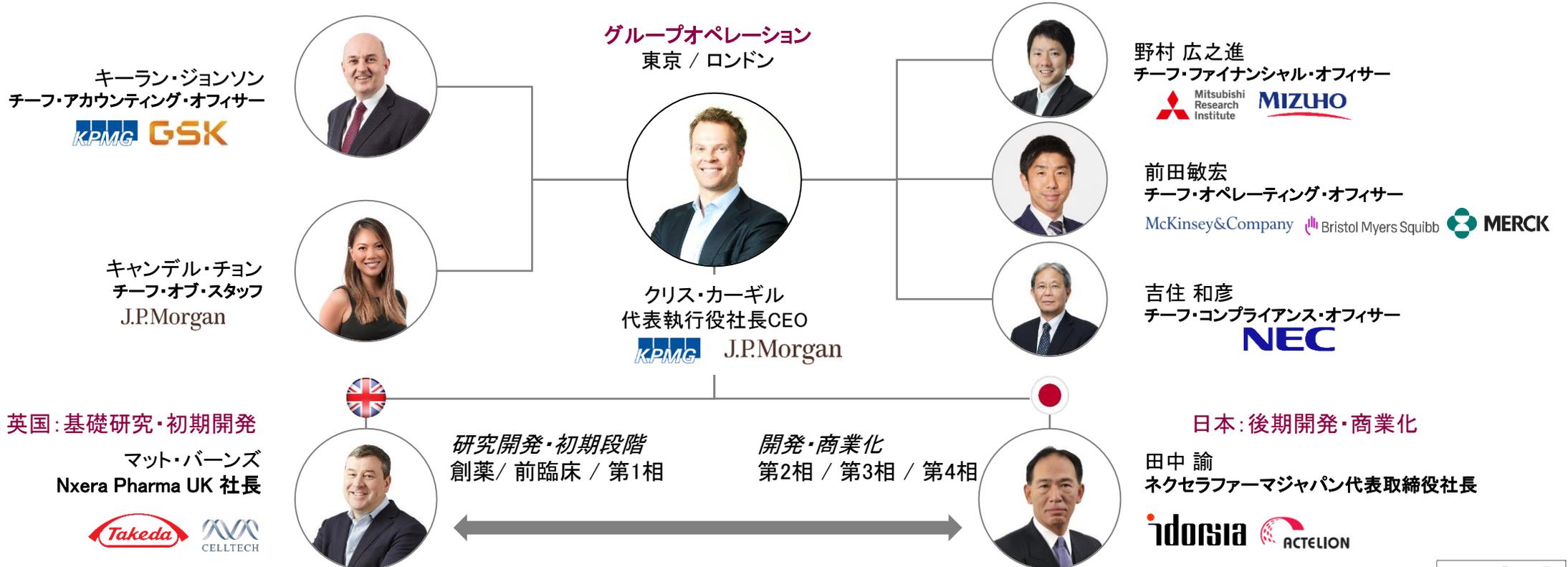
450億円以上の現預金
(2023年12月末時点)

当社のマネジメントチーム

取締役

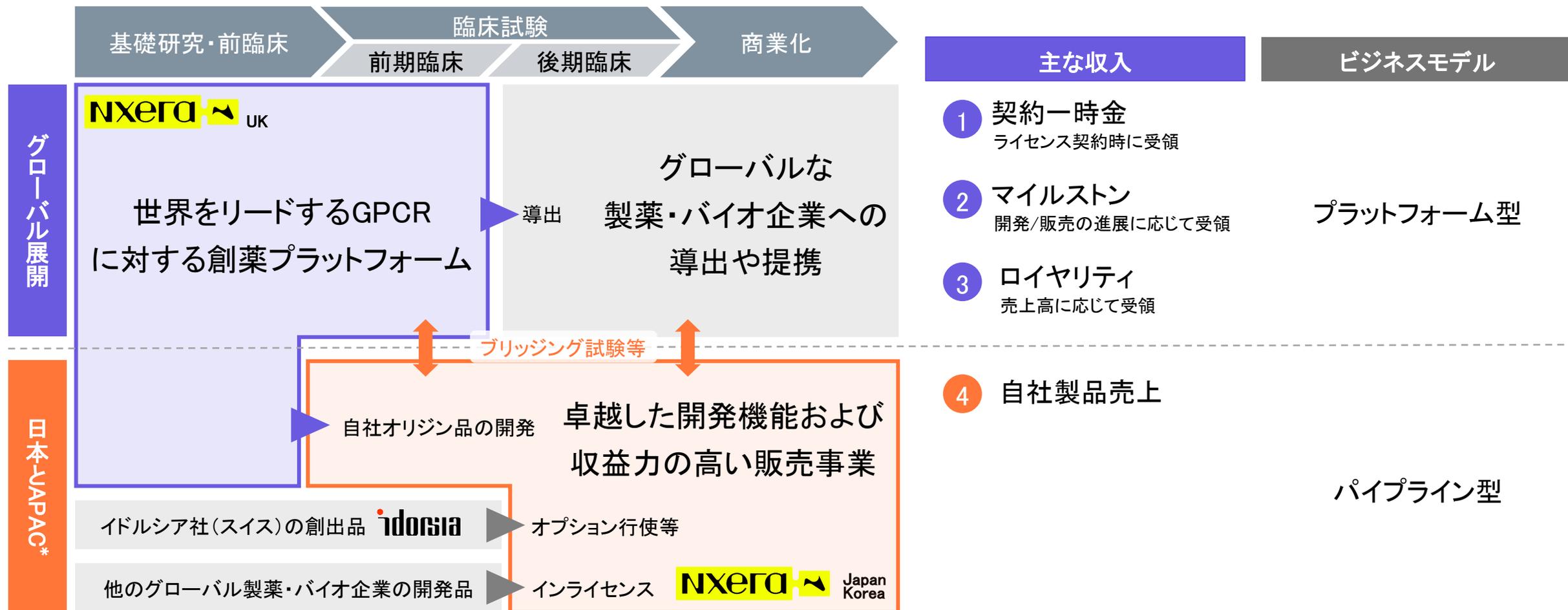
 田村 真一 取締役会会長 Genentech Fujisawa	 クリス・カーギル CEO KPMG J.P.Morgan	 遠山 友寛 法務 JMI ASSOCIATES	 ロルフ・ソダストロム 財務 M pwc BTG	 デビッド・ロブリン 臨床開発 Pfizer BAYER	 加賀 邦明 臨床開発 Mitsubishi Chemical Holdings	 富田 英子 薬事 AstraZeneca Eisai Bristol Myers Squibb	 永井 智亮 コンプライアンス NOMURA Doshisha University	 関 美和 ESG POWER Morgan Stanley
--	--	---	---	---	---	---	---	---

エグゼクティブ・マネージメント



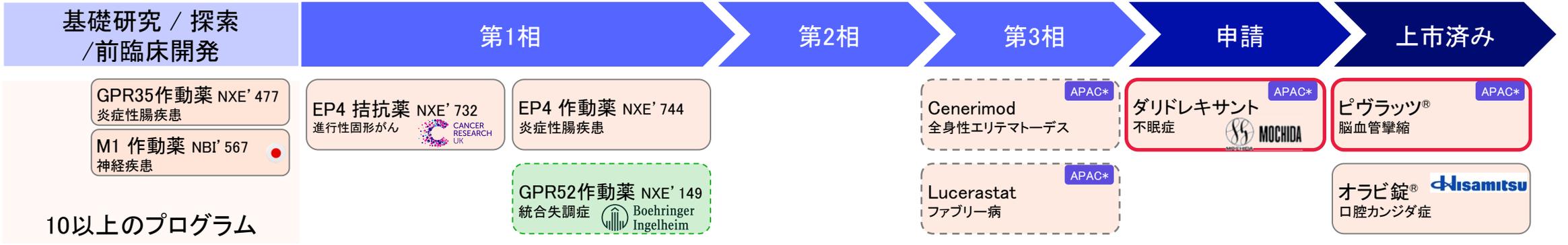
ビジネスモデルとシナジー

プラットフォーム型とパイプライン型の事業をそれぞれ発展させつつ、両者間でのシナジーを追求

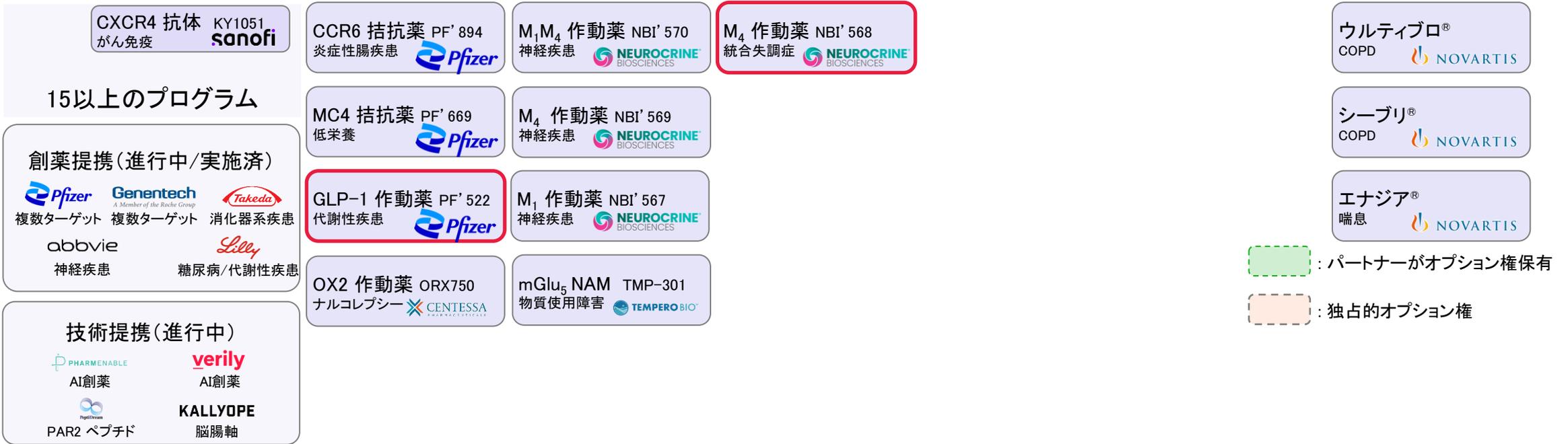


パートナー/パイプライン一覽

自社開発



提携



: パートナーがオプション権保有

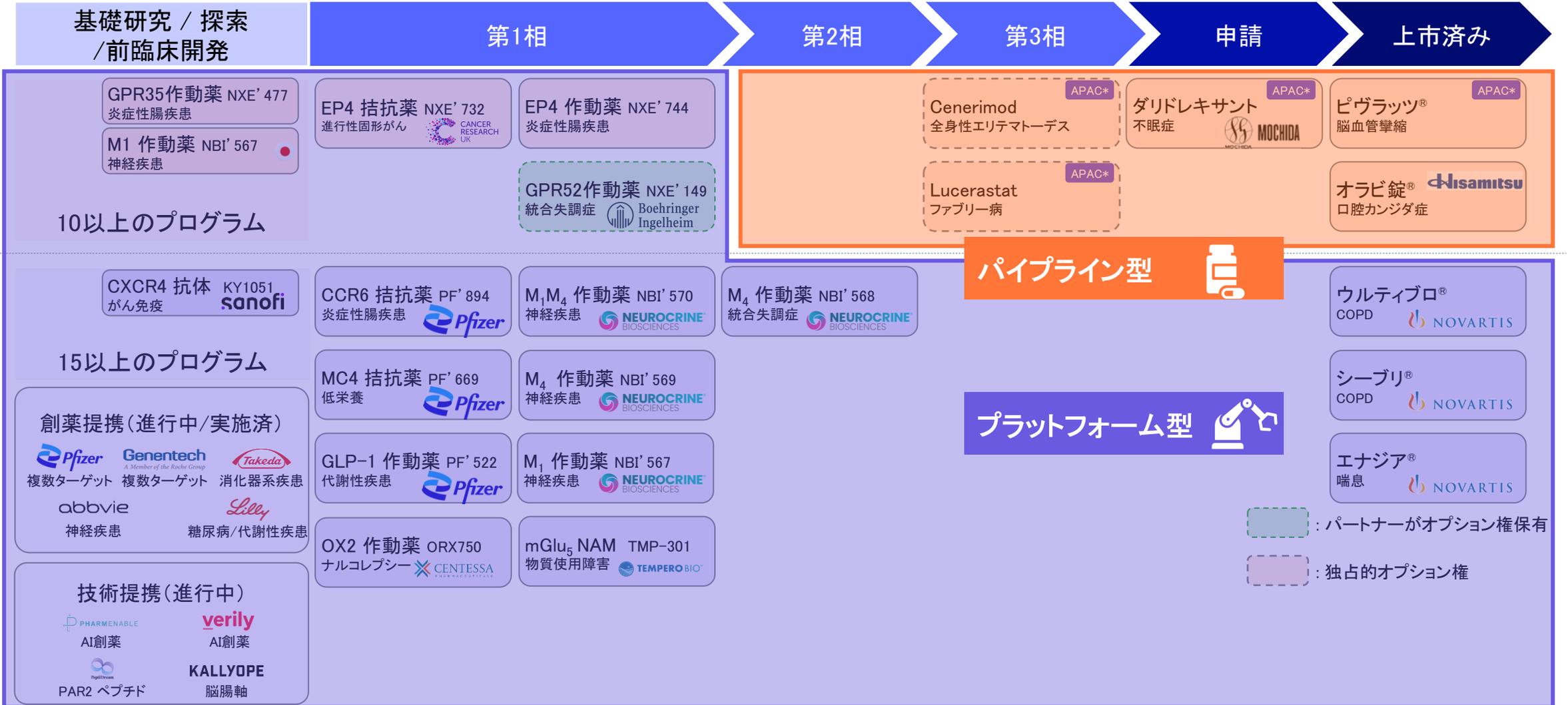
: 独占的オプション権

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。
* 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。

パートナー/パイプライン一覧

自社開発

提携

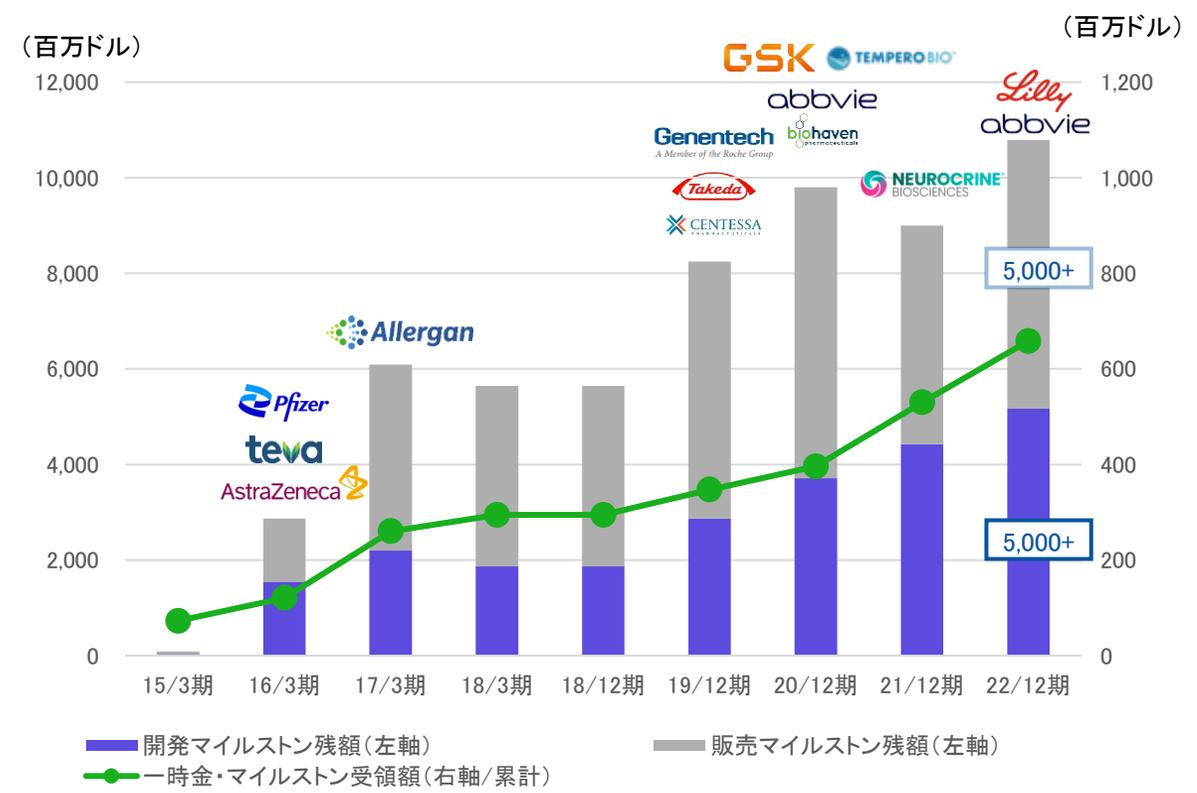


注: シーブリ®, ウルティブロ®, エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。
* APAC (中国を除く) には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む。

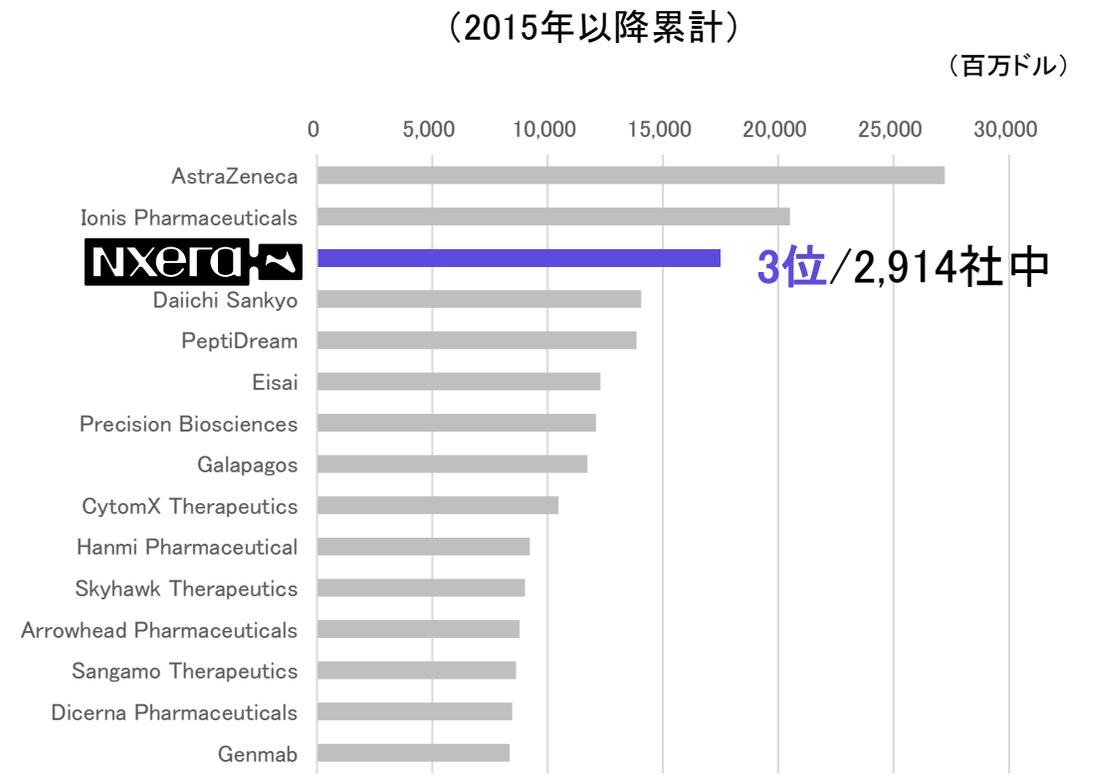
グローバルの大手製薬との豊富な取引実績

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



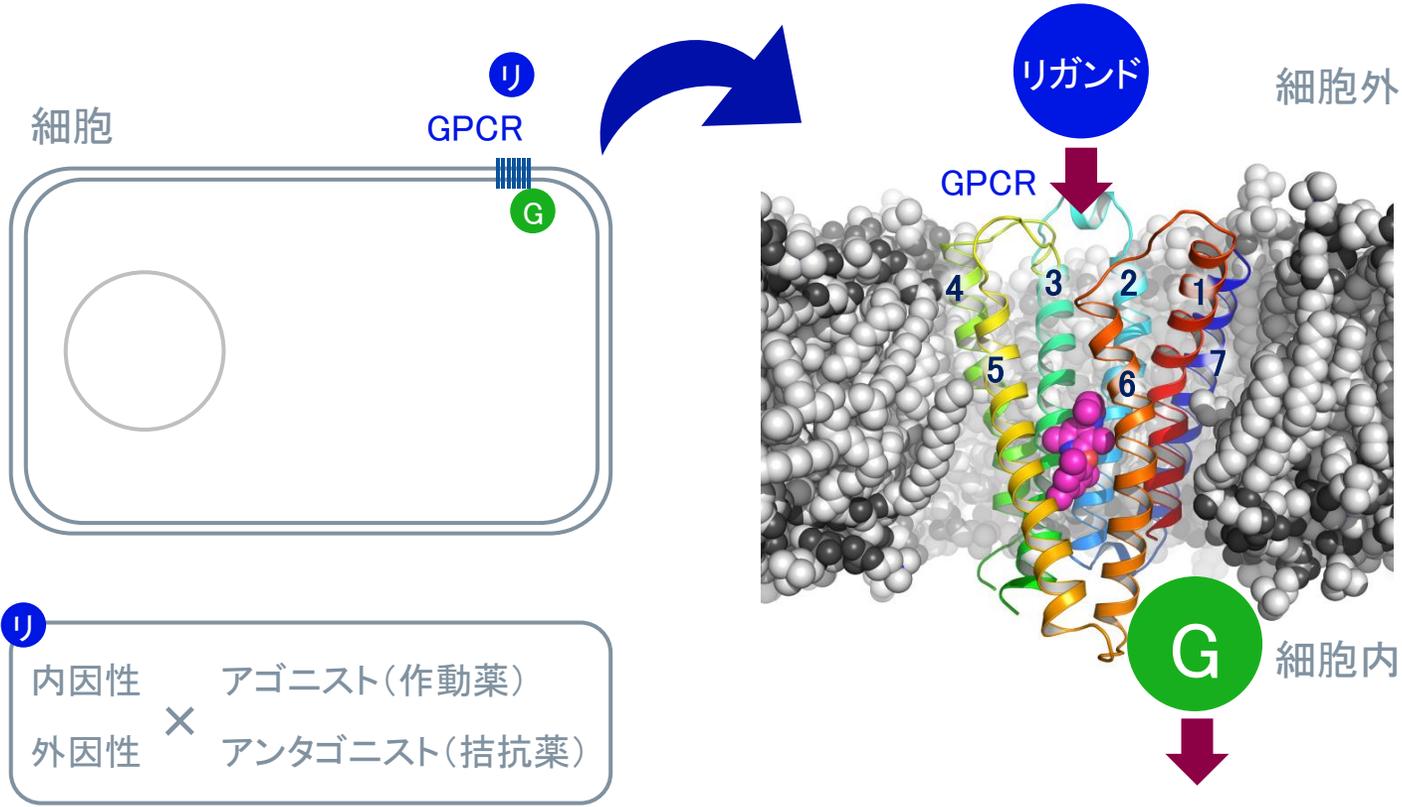
製薬/バイオ企業のライセンス金額ランキング上位15社²



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
出典: 当社資料より作成(左図)、EvaluatePharma(2023/2/6時点)より作成(右図)

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



内因性 × アゴニスト (作動薬)
 外因性 × アンタゴニスト (拮抗薬)

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



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

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



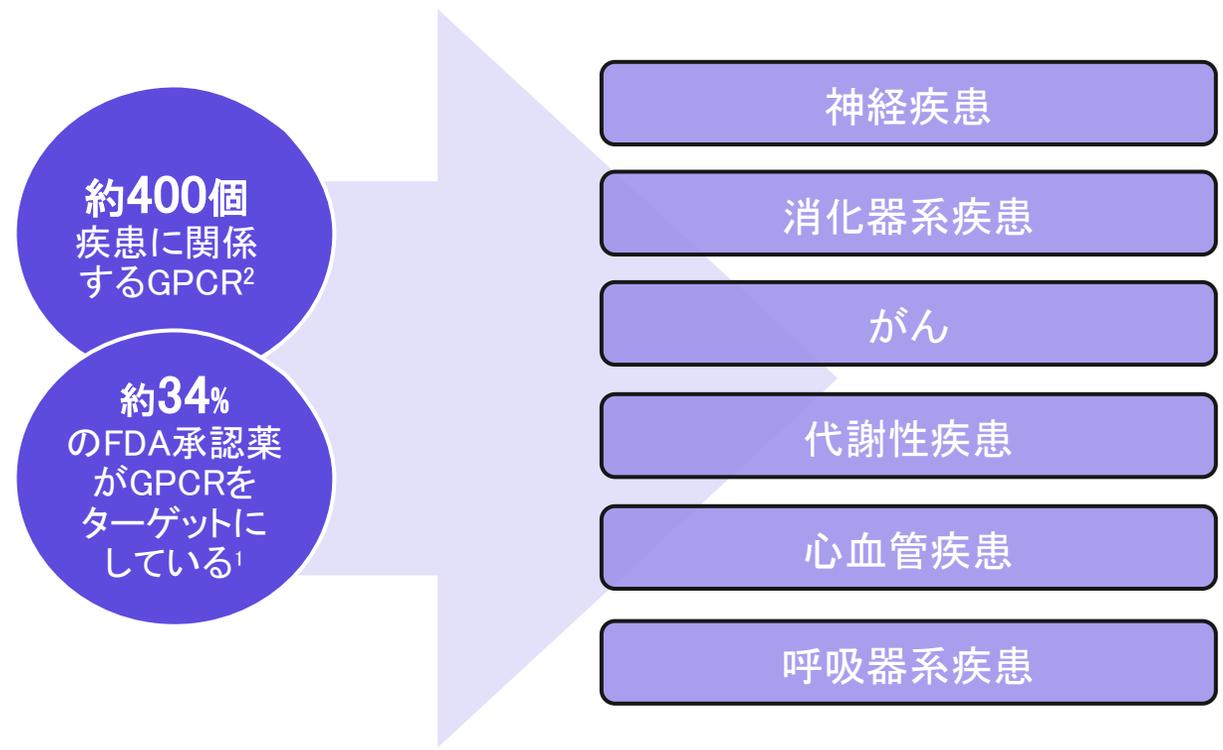
全体で約800の創薬機会 (潜在的に約400個の創薬ターゲットとなるGPCRが存在)

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

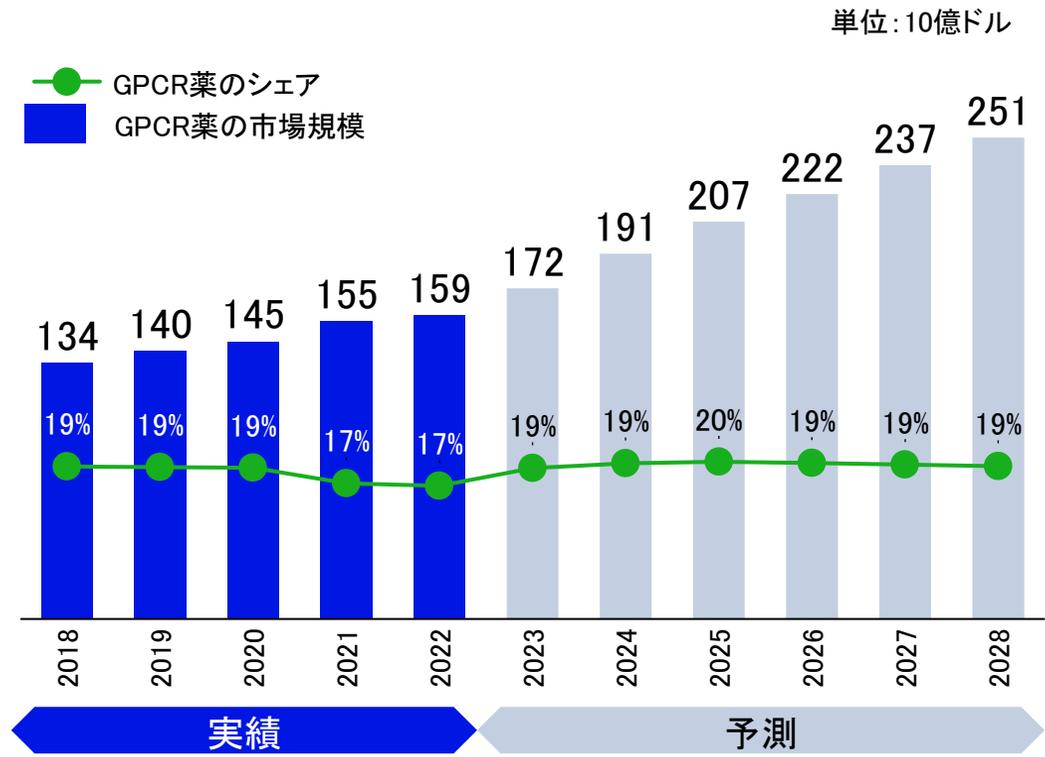
Sources: GPCRs as targets for approved drugs: How many targets and how many drugs? (2018), Evaluate Pharma, The IUPHAR/BPS Guide to PHARMACOLOGY

NxWave™プラットフォームを活用し、GPCRを標的に創薬

GPCRは最大の創薬ターゲットで、FDAが承認した医薬品のおよそ1/3がGPCRを標的とし、市場規模のおよそ2割を占める



GPCRは広範な疾患に関係し、幅広い治療への可能性を秘めている

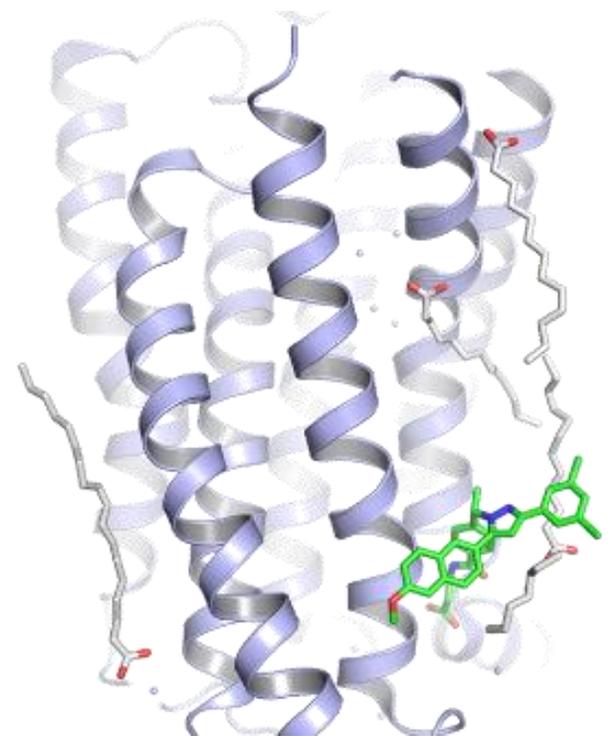


GPCRをターゲットにする薬は全医薬品の2割の市場を占める

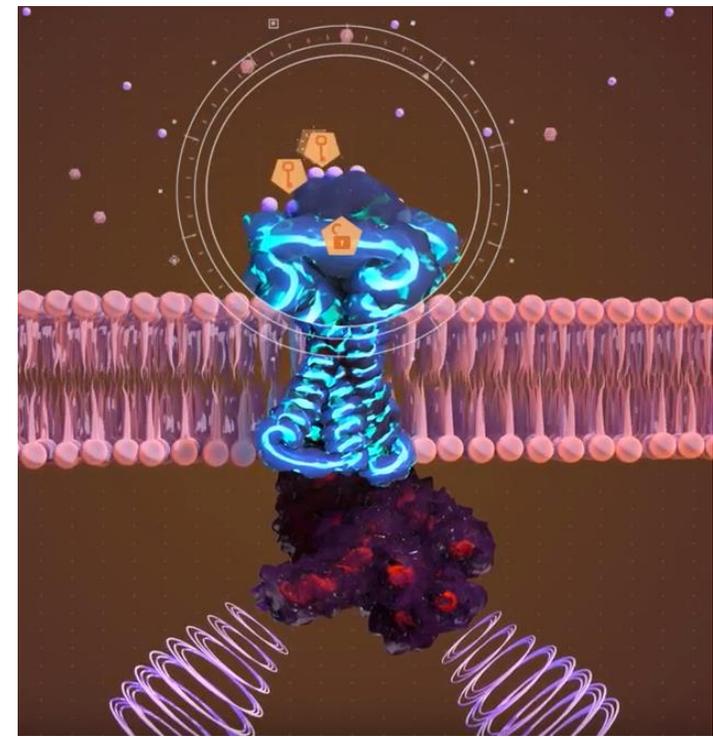
出所: ¹ “Unexplored opportunities in the druggable human genome”, Nature Reviews, 2016 ; ² “Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications”, Nature Reviews, 2017, GPCRs as targets for approved drugs: How many targets and how many drugs? (2018), Evaluate Pharma, The IUPHAR/BPS Guide to PHARMACOLOGY

NxStaR™技術により高度なGPCR創薬を実現

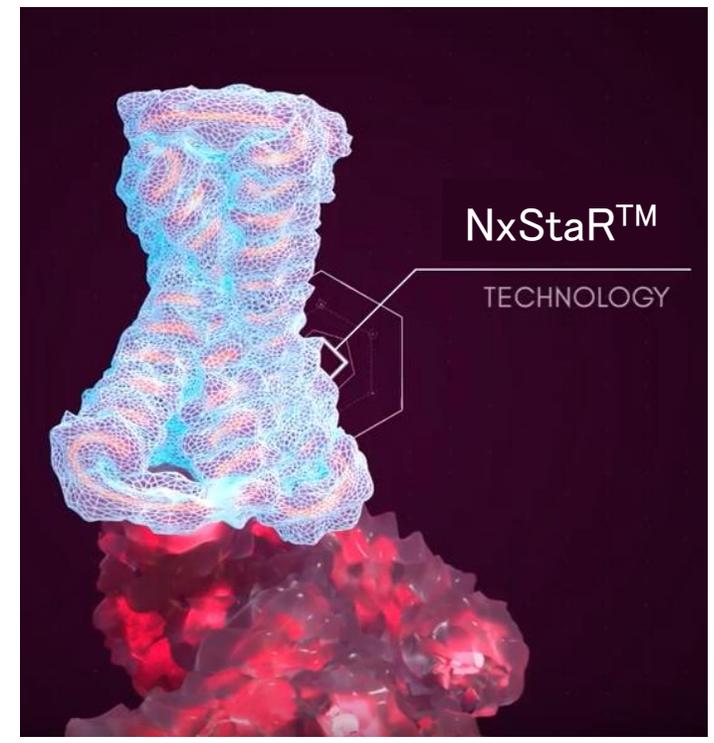
GPCRの構造を知ることで、より優れた高度な創薬が可能に



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



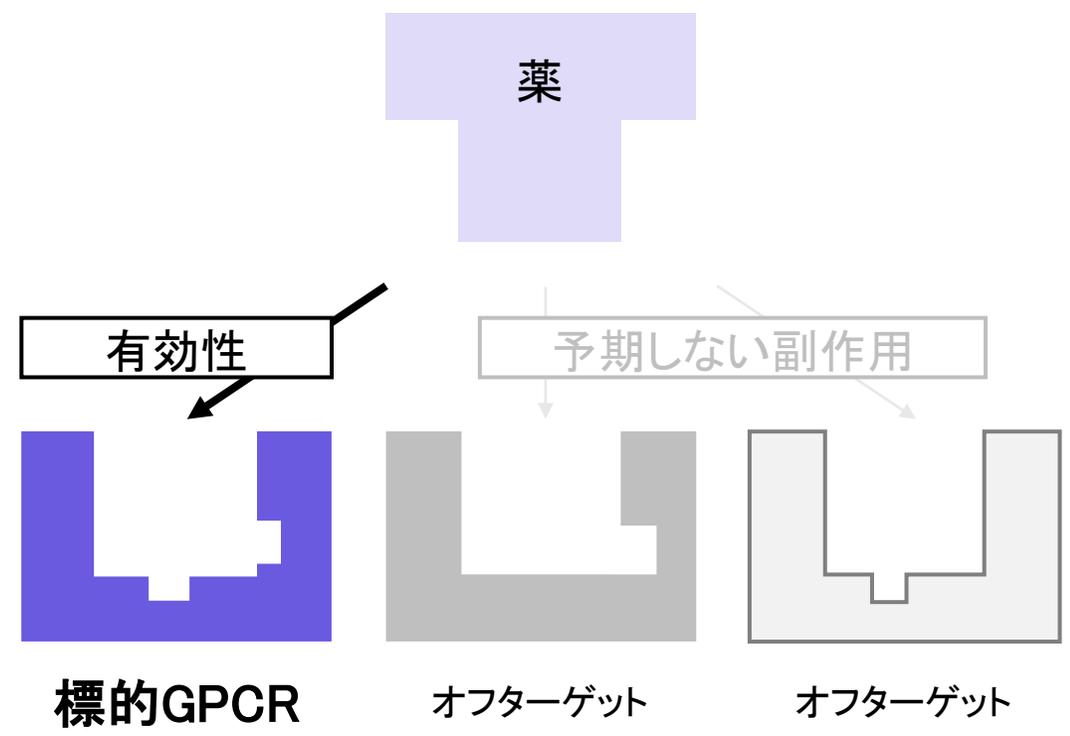
商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

当社技術：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

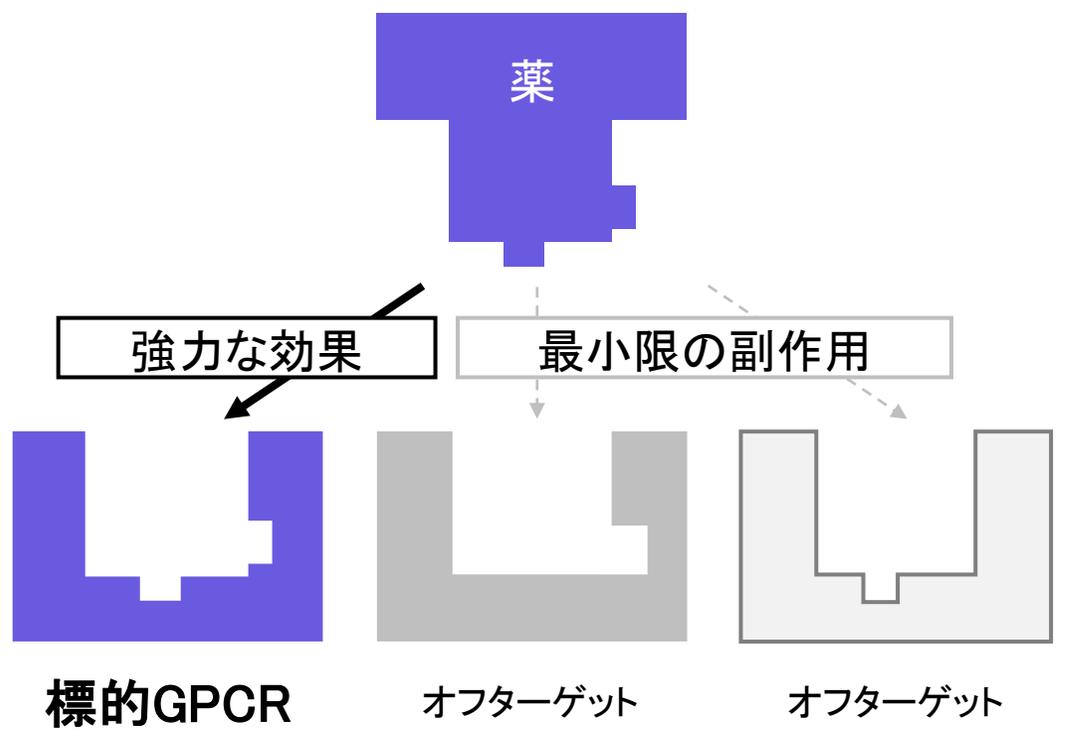
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

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



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



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。

2番目に大きな 医薬品市場(中国除く)

- 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

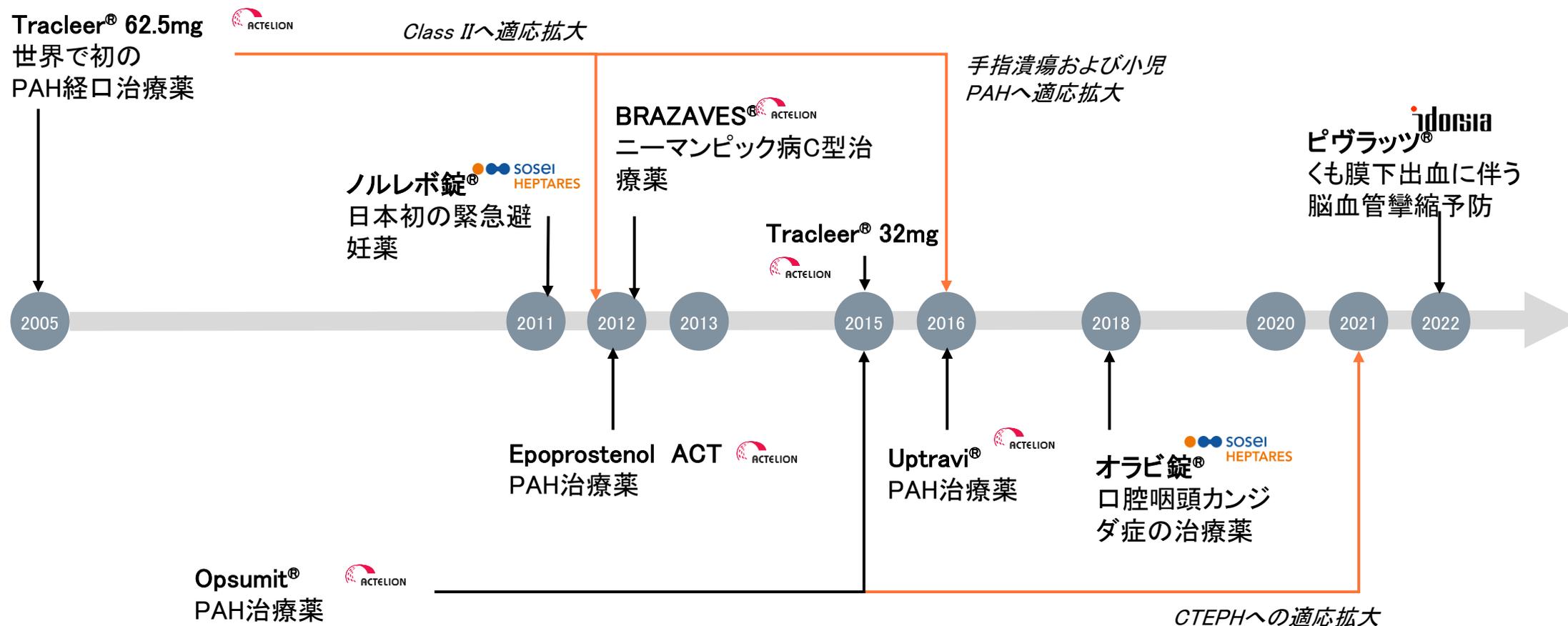
規制動向によってはさらに魅力的な市場になりうる

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



当社のNPJチームは日本においていくつもの承認を獲得してきた

アクテリオン、イドルシア、そーせいで実績を積んだ経験豊富な開発チームを保有



過去17年で日本において9個の承認を獲得

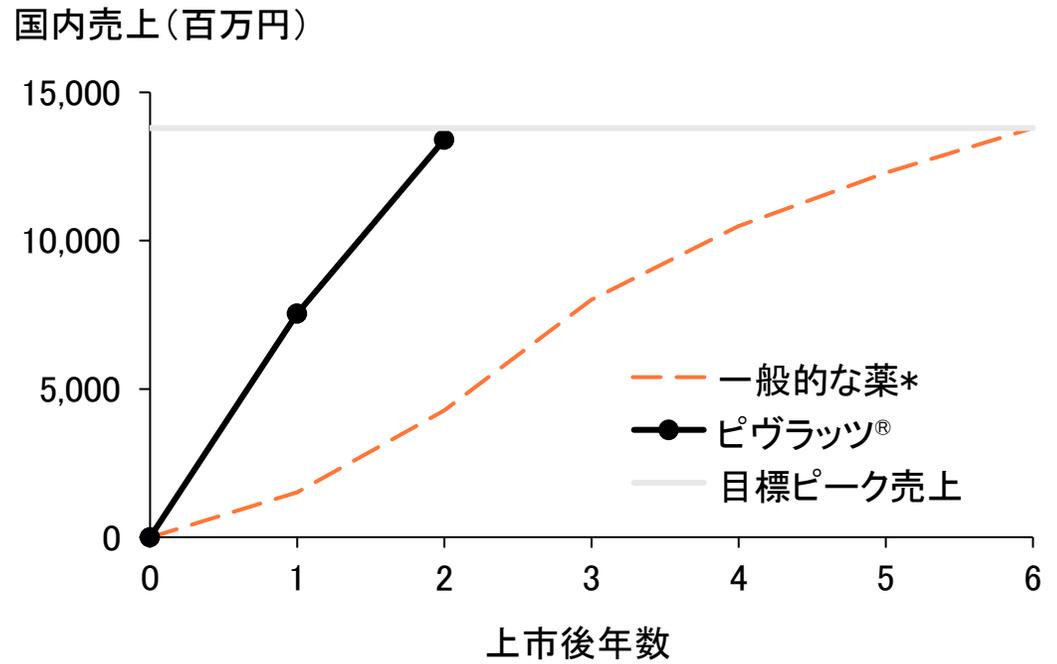
注: 当社の開発チームはアクテリオン・イドルシア・そーせいのメンバーで構成

ピヴラッツ®: 高い有効性を示し、売上を急速に拡大

ピヴラッツ®は臨床試験で有効性を示し、急速に売り上げを拡大している

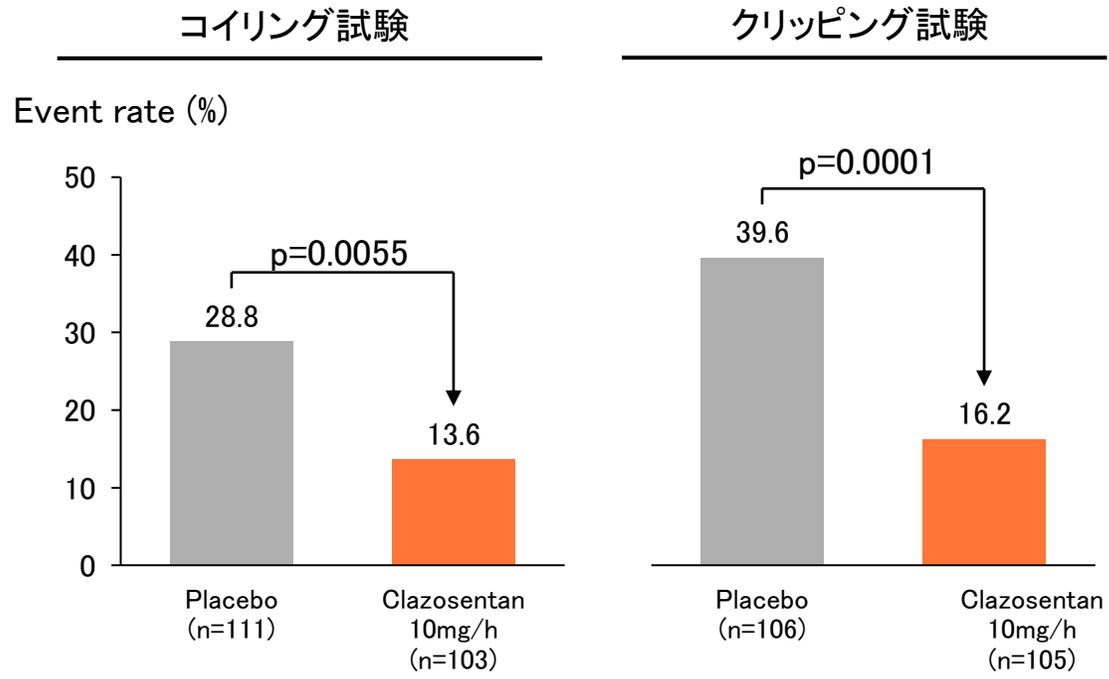
迅速な売上拡大

目標ピーク売上を上市後2年で達成(通常は6年程度)



臨床試験: 脳血管攣縮に関連する脳虚血合併症と全原因による死亡率を有意に減少

臨床試験での有効性が高く評価され、他よりも高いエビデンスレベルでガイドラインに収載

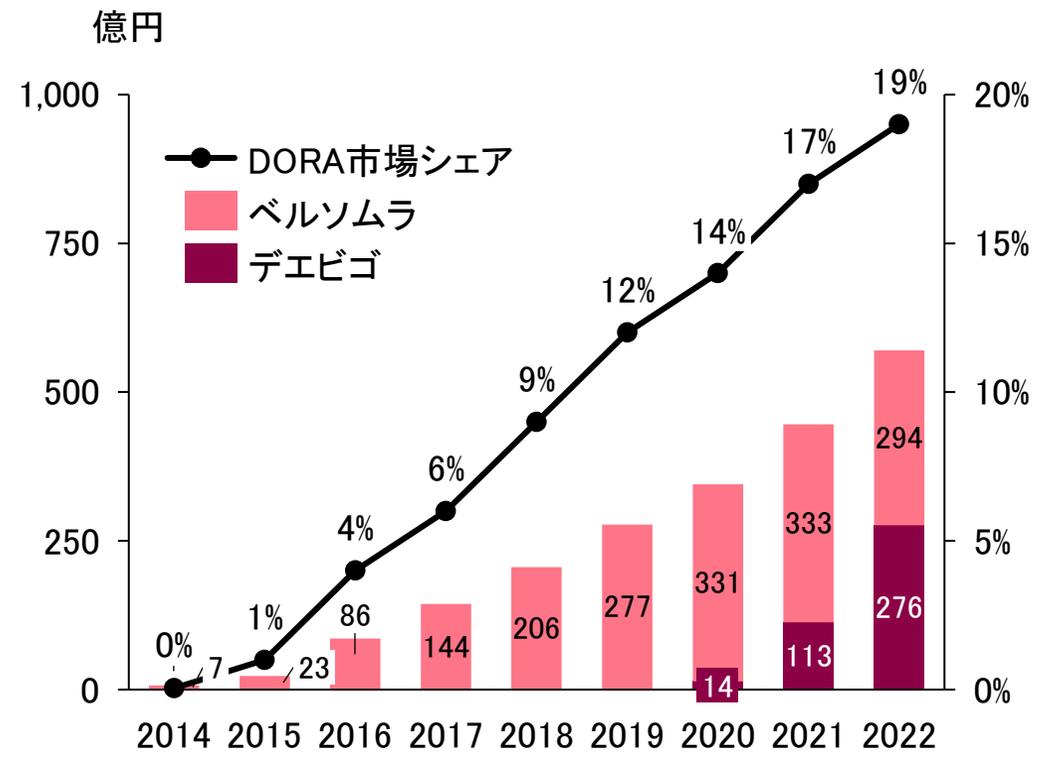


注: 1 aSAH後の日本人成人患者における脳血管攣縮に関連する症状及び原因を問わない死亡の低減に対するクラゾセンタンの有効性及び安全性を評価する2つの前向き、多施設、二重盲検、無作為化、プラセボ対照第3相試験が日本の57の脳神経外科において並行して実施された。患者は1:1に無作為化され、aSAHの発症から48時間以内に10mg / hrのクラゾセンタンまたはプラセボのいずれかをaSAH後最大15日間持続静脈内投与した。2つの試験プロトコルは同じであり、インターベンションを実施している患者を除き血管内コイルリング術(JapicCTI-163369;「コイルリング試験」)または外科的クリッピング術(JapicCTI-163368;「クリッピング試験」)において各試験221人の患者を登録した。

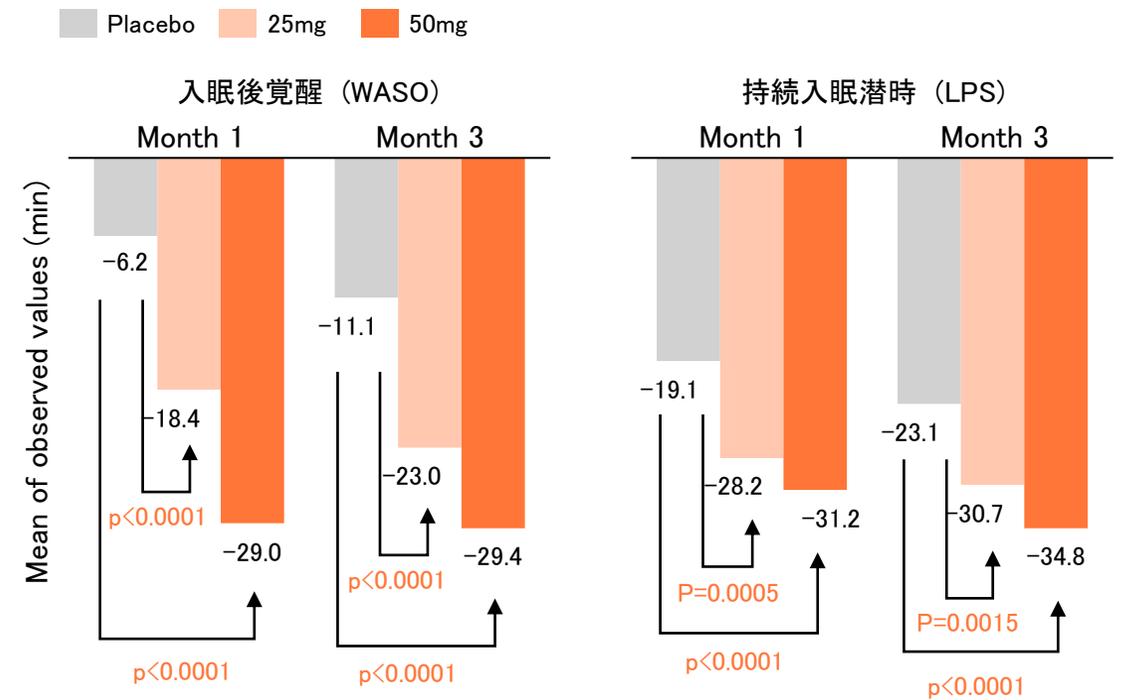
ダリドレキサント(デュアルオレキシン受容体拮抗薬:DORA)

DORAは日本で市場が拡大。ダリドレキサントは日本での今年販売開始を予定。

DORAは睡眠薬市場でシェアを急速に拡大(日本)



グローバルな第3相試験で2つの主要評価項目を達成



2024年内に日本での販売開始を予定し、日本およびAPAC(中国を除く)における不眠症患者のアンメットニーズを満たしていく



導入・製品獲得で日本での事業を加速させる

イドルシア社以外からも導入や製品獲得を積極的に行い、複数製品を導入して日本事業を加速させる

パートナー先
(導入元)



idorisia +

新規のパートナー企業
(日米欧が中心)

イドルシア社以外にも新規パートナー候補を積極的に探索

疾患領域



- 少数の販売部隊で全国をカバーできる疾患を優先的に検討
- アンメットニーズが残る領域に注力し、ニーズ充足で競争優位性を確保

導入活動



- 今後数年にわたり継続的に導入・獲得を実施
- 複数製品を導入し、日本事業を強化

製品導入を通じドラッグラグ・ドラッグロス进行解消し、日本の患者さまに貢献していく

今期の展望

03

2024年の主な目標

01

ピヴラッツ®の売上高160億円以上

02

ダリドレキサントの日本での承認取得

03

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

04

1つ以上の価値の高い提携契約の締結し、自社による第 I 相試験を1つ以上開始

Boehringer
Ingelheim

EP4受容体作動薬

05

新ブランドコンセプト、効率性、拡張性のためのシステム・アプリケーションなどのPMI投資を実施

2024年から2025年初頭で見込まれるイベントの整理

今後の新規提携以外を掲載

開発プログラム	パートナー	タイミング	イベント
✓ EP4受容体作動薬		達成(2024年3月)	第 I 相臨床試験開始
✓ GPR35受容体作動薬	 	達成(2024年3月)	プログラム返還
✓ GPR52受容体作動薬		達成(2024年3月)	オプションライセンス契約
✓ NBI-568 (M4受容体作動薬)		達成(2024年4月)	長期毒性試験成功
✓ NBI-567 (M1受容体作動薬)		達成(2024年5月)	第 I 相臨床試験開始
✓ ORX750 (Ox2作動薬)		達成(2024年5月)	第 I 相臨床試験開始
Generimod		2024年中ごろ	オプション権行使の判断
Lucerastat		2024年中ごろ	オプション権行使の判断
NBI-568 (M4受容体作動薬)		2024年3Q	第 II 相臨床試験トップライン結果発表
ダリドレキサント(韓国)		2024年下期	新規提携&第 III 相臨床試験開始
ダリドレキサント(日本)		2024年下期	国内製造販売承認取得
ORX750 (Ox2作動薬)		2024年下期	第 I 相臨床試験完了
TMP-301 (mGlu5 NAM)		2024年中	第 II 相臨床試験開始
ピヴラッツ®(韓国)		2025年上期	新規提携(達成) & 上市

¹ 持田製薬との共同開発および共同販売に関する独占的ライセンス契約

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

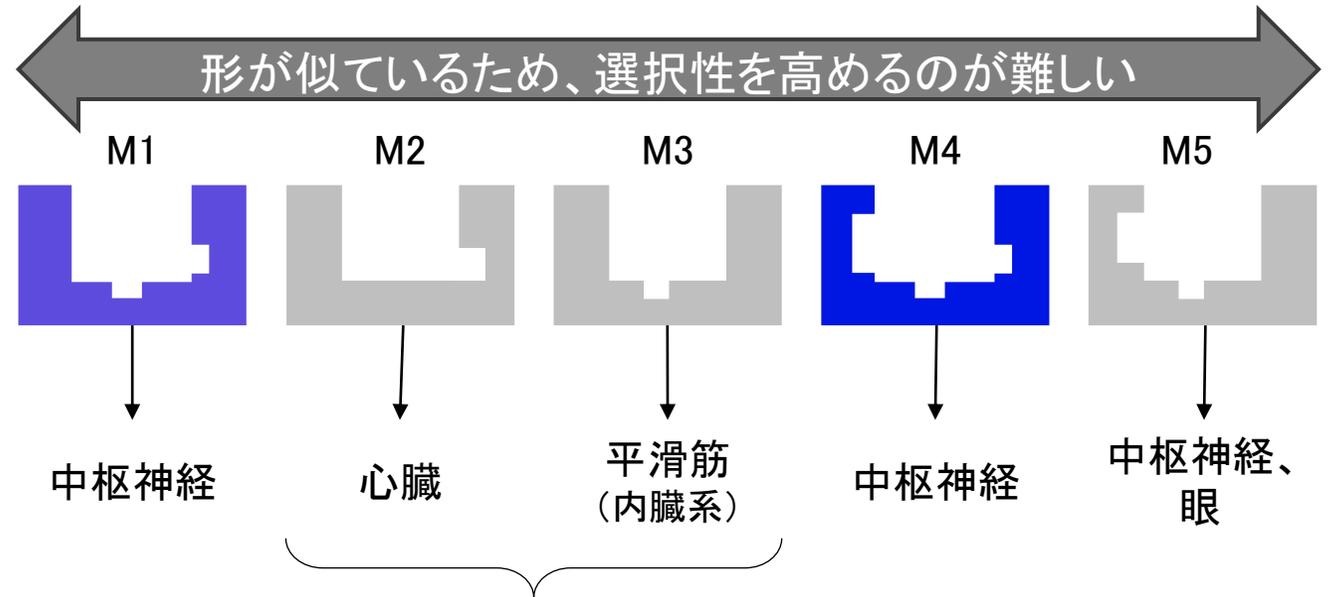
ムスカリン受容体と統合失調症

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



M2、M3受容体を活性化すると
消化管症状をはじめ副作用が発生

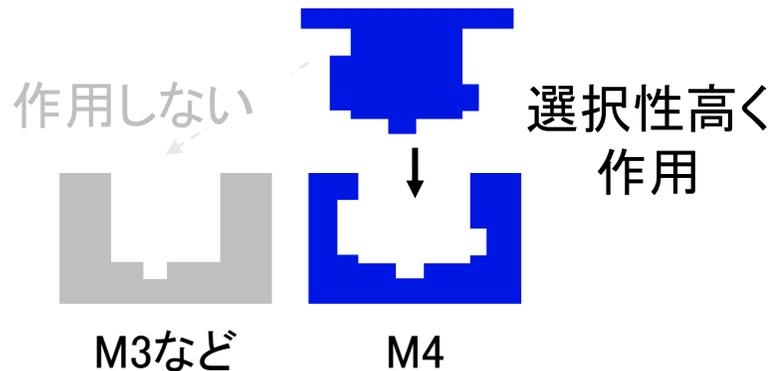
ムスカリン受容体作動薬は、効果はあると言われながらも副作用の回避が技術的に難しかった

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

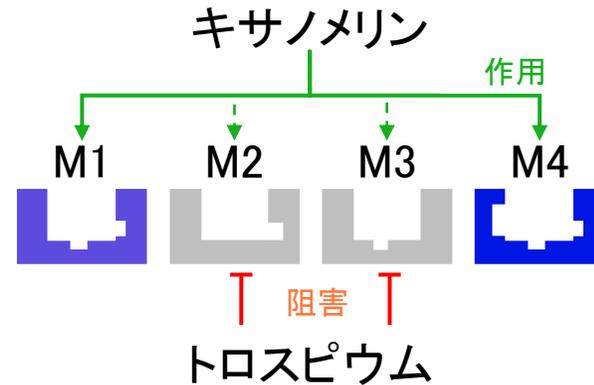
Nxera / Neurocrine (NBI-1117568)

構造ベース創薬でM4への選択性が高い作動薬を開発



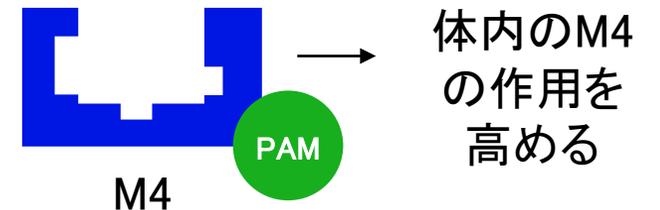
Karuna / BMS (KarXT)

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)

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)



ムスカリン作動薬に関するニューロクライン社の発表

2024年第1四半期の決算説明会で、2024年第3四半期にM4作動薬のP2トップラインデータが得られる見込みと発表

Developing Novel Muscarinic System Portfolio

Neurocrine Biosciences Advancing Muscarinic Portfolio

➤ Phase 2 placebo-controlled study of NBI-1117568*, a selective M4 agonist, as a potential treatment for schizophrenia with **top-line data expected in Q3 2024**

✓ **NBI-1117568** offers the potential for an improved safety profile:

- ❑ Without the need of combination therapy to minimize side effects
- ❑ Avoids the need of cooperativity with acetylcholine when compared to non-selective muscarinic agonists and positive allosteric modulators in development

➤ Phase 1 Studies for:

- ✓ **NBI-1117567*** (M1 preferring agonist)
 - ✓ **NBI-1117569*** (M4 preferring agonist)
 - ✓ **NBI-1117570*** (dual M1 / M4 agonist)
- } for central nervous system disorders
- ✓ NBI-1076986 (M4 antagonist) for movement disorders



*In-licensed from Nxera Pharma UK Limited (formerly Sosei Heptares);
NBI-1117567, NBI-1117568, NBI-1117569, NBI-1117570 and NBI-1076986 are investigational and not approved in any country

22



質疑応答

質疑応答でご注意いただきたいこと

- 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。ただし、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OK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
- 質問については何卒、簡潔にお願いできればと思います。私も、極力簡潔にお答えするように努力します。参加者の皆様と、できるだけ実りの大きな会にしたいと思っていますので、ご協力をお願いします
- 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

05

2024年12月期第1四半期業績ハイライト

ピヴラッツの売上に加え、提携による契約一時金により収益が増加

01

売上収益は4,611百万円(前年:943百万円)

日本におけるピヴラッツ®の売上2,283百万円、2024年3月のベーリンガーインゲルハイム社との新規提携による契約一時金25百万ユーロ(うち10百万ユーロ(1,596百万円)を2024年第1四半期に計上)が収益増加に貢献

02

コア営業損益は931百万円の損失(前年:1,465百万円の損失)

売上収益増加によりコア営業損失は前年比で減少。ただし、NPJ/NPK(旧IPJ/IPK)事業に関連するコア費用(2,193百万円)を含む費用増加で一部相殺

03

当期損益は3,281百万円の損失(前年:1,402百万円の損失)

非現金支出費用の増加(ピヴラッツ®の償却、棚卸資産の取得時公正価値の測定に伴う非現金支出費用含む)に加え、繰延税金資産の取り崩しによる2024年第1四半期の税金費用の増加

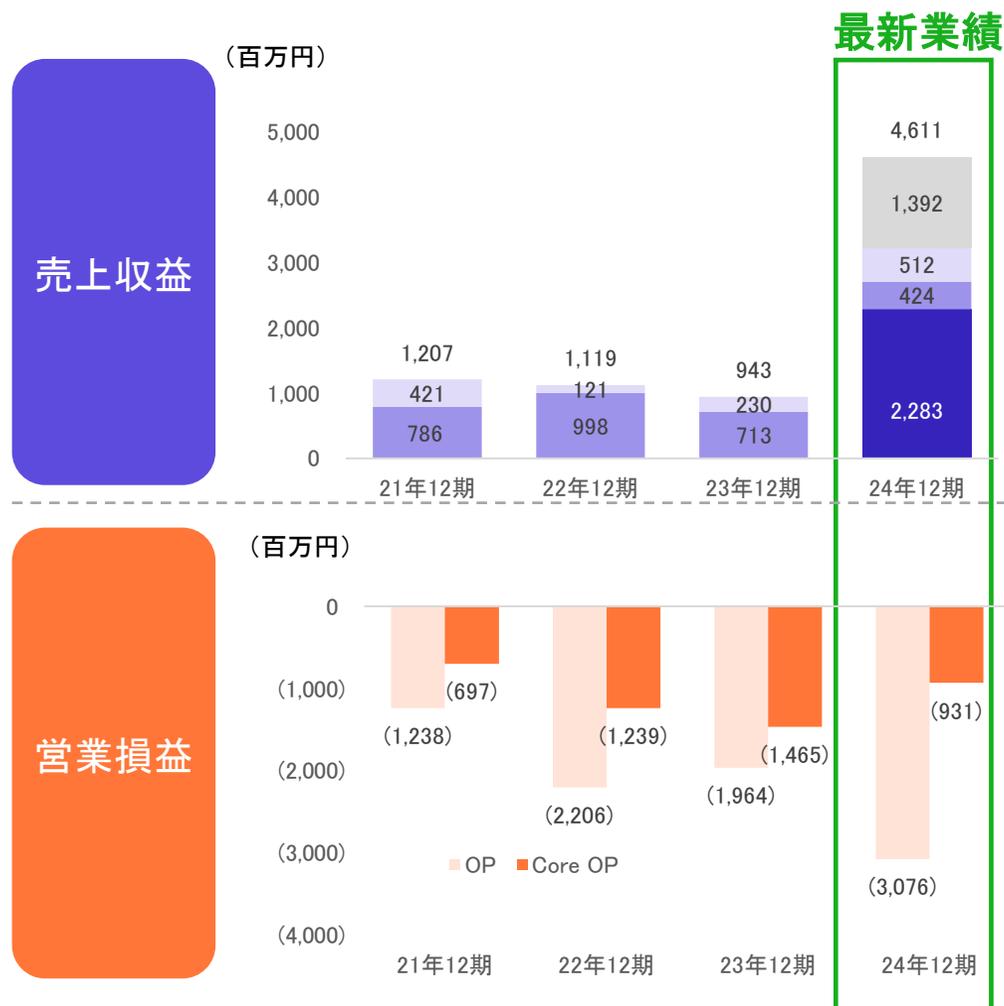
04

現金及び現金同等物は約470億円(2024年3月31日時点)

引き続き強力なキャッシュ・バランスを維持

主要決算数値

ピヴラッツ®の販売額とベーリンガーインゲルハイム社との新規提携の契約一時金が売上収益に寄与



	変動要因
契約一時金 ¹	<ul style="list-style-type: none"> 2024年第1四半期にベーリンガーインゲルハイムと独占的オプション権契約を締結
マイルストーン収入 ²	<ul style="list-style-type: none"> 2023年、2024年ともにマイルストーン収益はなし 2024年はベーリンガーインゲルハイムとの新規提携により、提携に関連する繰延収益が増加。
ロイヤリティ/その他	<ul style="list-style-type: none"> 製品の販売からのロイヤリティは減少
医薬品販売	<ul style="list-style-type: none"> 2024年はピヴラッツ®の売上が含まれる
売上原価	<ul style="list-style-type: none"> ピヴラッツ®の売上原価が追加 棚卸資産の取得時公正価値の測定に伴い、ピヴラッツ®の現在庫分に対して売上原価に加算
研究開発費	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発活動への投資増(計画通り) NPJ/NPKを連結範囲に含めたことによる研究開発費の増加
販売費及び一般管理費	<ul style="list-style-type: none"> NPJ/NPKの連結による販売費及び一般管理費の増加 リブランディング含む統合関連費用 ピヴラッツ®関連の償却費の増加

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

2024年12月期 第1四半期決算のブレイクダウン

NPJ、NPK買収・統合で発生した非現金支出、一時的支出費用がコア営業損益・営業損益の差に影響

(百万円)	従来事業*1	+ NPJ / NPK*2	= 連結損益 (コア営業損益)	+ 非現金支出費用	+ 一時的支出費用	= 連結損益 (IFRS)	
売上収益	2,328	2,283	4,611			4,611	
売上原価 + 販管費及び 一般管理費	(1,164)	(1,821)	(2,985)	A (686) 売上原価調整額	B (341) 無形資産の償却	C (214) 統合関連費用	(4,841)
研究開発費	(2,503)	(371)	(2,874)	D (289) その他		(3,163)	
その他収益	317	-	317			317	
営業損益	(1,022)	91	コア営業損益 (931)			営業損益 (3,076)	

統合関連費用

- A 棚卸資産の取得時公正価値の測定に伴い、ピヴラッツ®の現在庫分に対して売上原価に加算。2024年中頃まで続く予定。
- B ピヴラッツ®およびダリドレキサントに関連する、無形資産の償却。2025年以降は年間1,800百万円程度を予定。
- C ITシステム統合やリブランディングに伴う統合関連費用

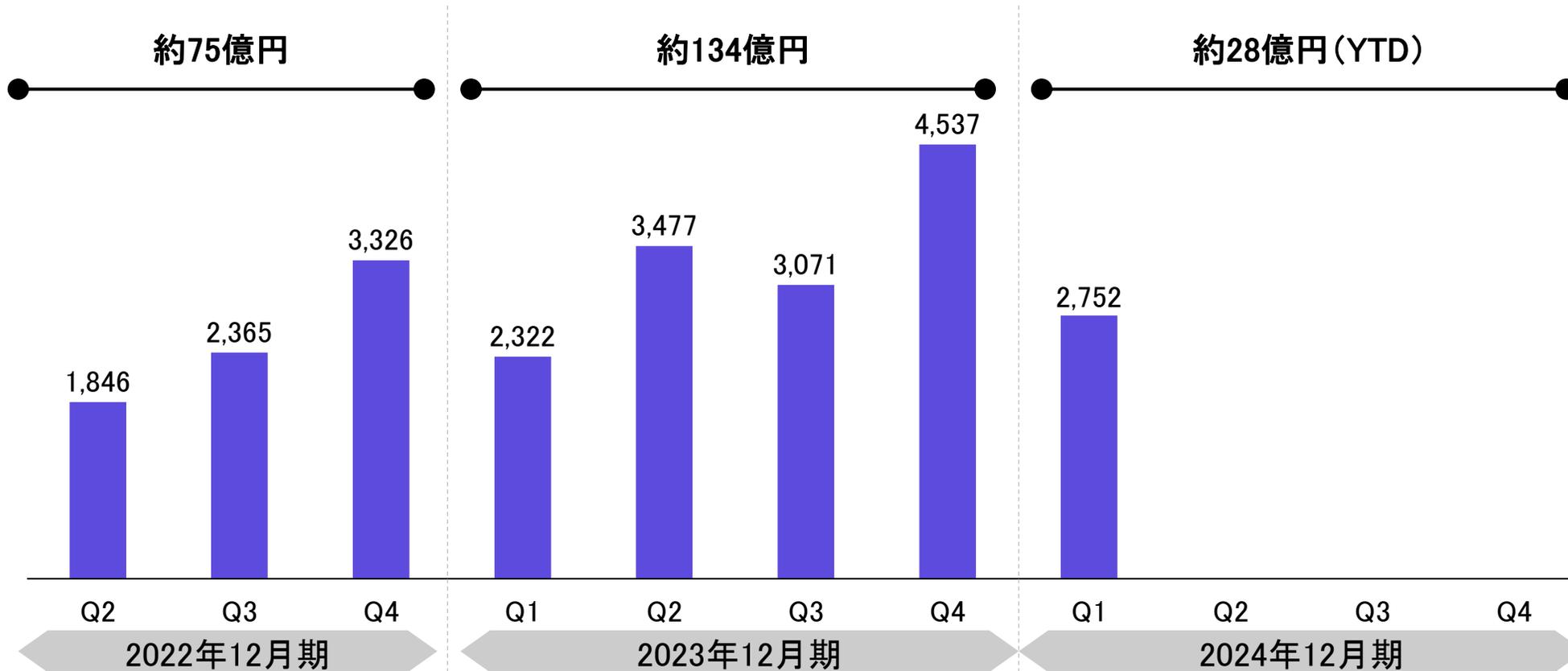
その他 D その他の無形資産(知財等)の償却、有形固定資産(実験設備等)の償却、株式報酬費用

*1 = ネクセラファーマ+(旧そーせいグループ)+ Nxera Pharma UK Ltd (旧ヘプタレス社)+株式会社そーせい
 *2 = ネクセラファーマジャパン(旧アイドルシアファーマシューティカルズジャパン + Nxera Pharma Korea (旧Idorsia Pharmaceuticals Korea))

四半期ごとのピヴラッツ®の売上推移

2024年のピヴラッツ®の売上高は160億円以上*を見込む

ピヴラッツ®の売上（薬価ベース*）

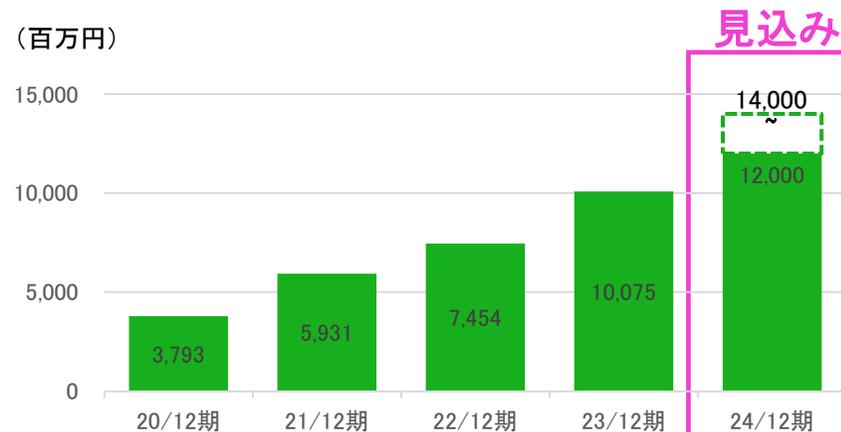


■ 2024年12月期第1四半期の売上は、前年同期比で約19%増加

* 薬価ベースの売上のため、実際の売上とは異なる

2024年12月期の費用見込み

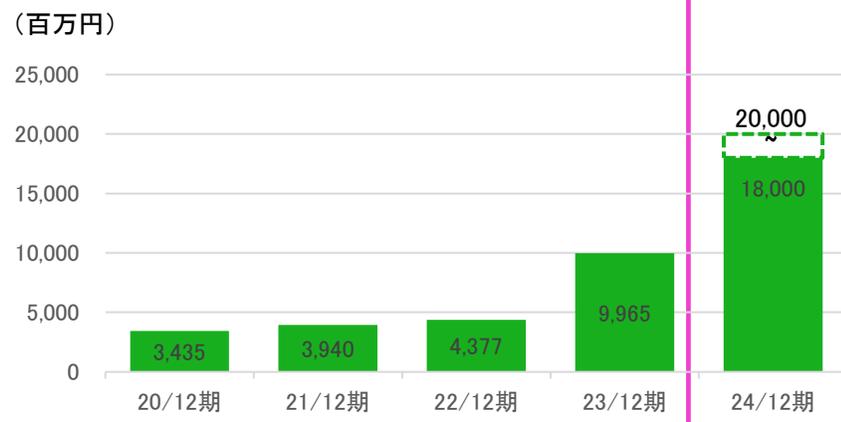
引き続き投資を強化し、中長期での高いリターンを目指す



研究開発費 (IFRSベース)

12,000百万円 ~ 14,000百万円

NPJ/NPK関連費用	■ NPJ/NPKの研究開発費が1年を通じて寄与
創薬機能の強化	■ 創薬・トランスレーショナルメディスン機能強化への投資
臨床開発の強化	■ 一つ以上の優先プログラムの臨床試験入り ■ 優先プログラムの臨床試験をさらに進めることで、ライセンス時の収入が増加する結果、大きな価値につながる



販売費及び一般管理費 (IFRSベース)

18,000百万円 ~ 20,000百万円

NPJ/NPK関連費用	■ NPJ/NPKの販管費が1年を通じて寄与 ■ 償却費の増加(約7億円) ■ ピヴラッツ®の販売加速、ダリドレキサントの日本での販売および韓国でのピヴラッツの発売準備(約20億円)
合併後の統合活動	■ NPJ/NPK買収関連費用(合併後の統合活動)(約10億円)

日本はAPACへの拡大の起点

APACは世界でも最も急速に成長中する市場の一つ

● 高品質で安定した、十分な規模を持つ市場



二番目に大きな医薬品市場(中国を除く)

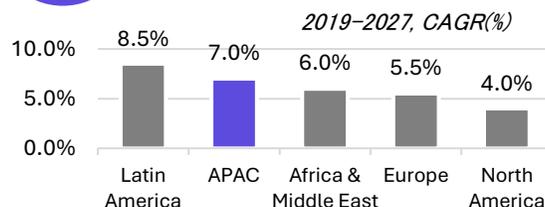


- 強固な国民皆保険制度
- 一部の競合企業が弱体化
- 新規参入者にとって魅力的な市場
- 人口が多く高齢化する社会
- 安定的でイノベーションが評価される市場

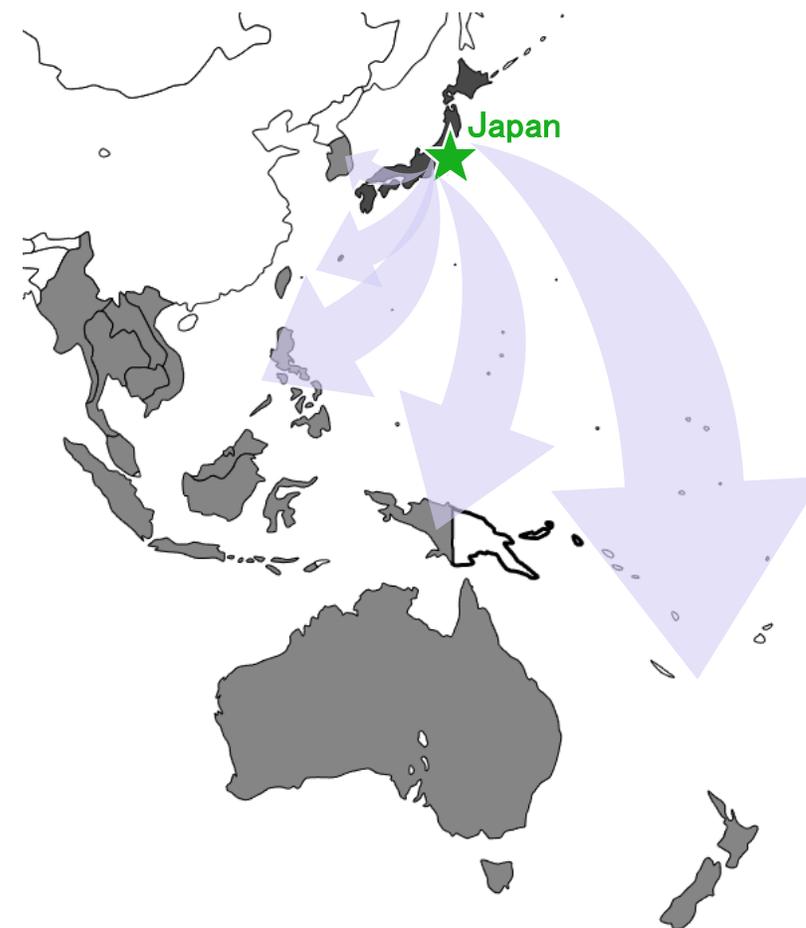
APAC* 世界でも最も急速に成長中する市場の一つ



二番目に成長している医薬品市場



- 人口が急増
- GDP/経済の急速な成長
- 新規参入者にとって魅力的な市場
- 人口が多く高齢化が進む社会
- 他地域の規制当局の承認が活用可能



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

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

日本の高い臨床品質を活用した開発と販売

日本の高いデータ品質による臨床イノベーションをテコに、APACへと展開

質の高い臨床開発



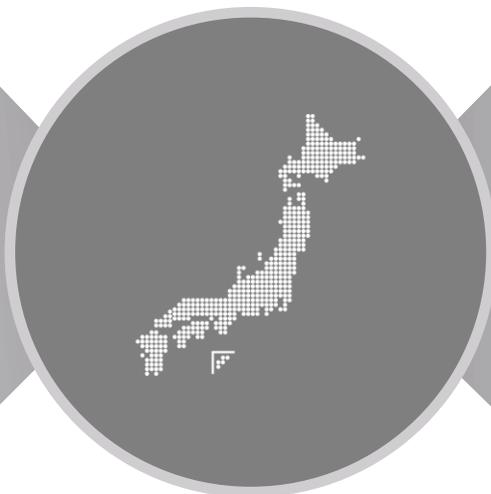
医師/医療専門家とともに疾患/薬剤について深く理解



臨床試験/PMS1のハイレベルなデータ



販売後の患者さまへの高い浸透率



新薬の評価に適した質の高い医師/医療専門家

適切な患者の確実なリクルート

日本の患者さまのドラッグロス・ドラッグラグ解消に貢献

質の高い規制環境



良質な臨床試験とPMSデータに裏付けられた適正な薬価



臨床開発による特許の延長



地域に合わせた最適化で、より早く早い臨床試験を実施

Generimod および Lucerastat について

魅力的な2つのプログラムの独占的オプション権を確保

Generimod

適応症	全身性エリテマトーデス(SLE)
作用機序	選択的 S1P ₁ 受容体モジュレーター
開発段階	第3相
患者数	約120,000人(日本)
主な治療法* (日本)	市場規模: 約300億円 <ul style="list-style-type: none"> ベンリスタ (GSK, ピーク時推定50~100 億円) サフネロー (AZ, ピーク時推定50~100 億円) プラケニル (サノフィ, 約50億円)
提供価値	<ul style="list-style-type: none"> 免疫カスケードの初期段階で循環T細胞およびB細胞を減少させることにより作用する、初の経口SLE疾患修飾療法となる可能性 S1P₁調節作用は、MS(ジレニア、ゼポシア)など他の疾患においても確立されたメカニズム 広範に適用可能なメカニズムであるため、他の自己免疫疾患にも拡大できる可能性

Lucerastat

適応症	ファブリー病
作用機序	グルコシルセラミド合成酵素阻害剤
開発段階	<ul style="list-style-type: none"> 第3相試験(MODIFY試験)の主要評価項目(神経因性疼痛)は達成されなかったが、副次的評価項目である腎機能および心エコー検査は良好であった 非盲検延長試験実施中
患者数	約1,000人(日本)
主な治療法* (日本)	市場規模: 約300億円 <ul style="list-style-type: none"> リプレガル(ERT、武田薬品、約140億円) ファブラザイム(ERT、サノフィ、約100億円) ガラフォルド(PCT、アミカス、約46億円)
提供価値	<ul style="list-style-type: none"> 静脈内酵素補充療法に代わる、幅広く適用可能な経口単剤療法となる可能性(ガラフォルドは現在利用可能な唯一の経口療法であり、特定の稀な変異を持つ患者さまに適用可能)

少額のオプション料の支払いにより、当社は自社計画・自社負担での開発が可能
 商業化に成功した場合、当社はイドルシア社に1桁台の段階的ロイヤルティを支払う

出所 *Evaluate Pharma社、JMDC社、Datamonitor社による推定値。
 ERT: 酵素補充療法、PCT: 薬理的シャペロン療法

独占的オプション権および優先交渉権/優先拒否権

イドルシア社のグローバル開発品から7品目を日本およびAPAC向けに開発できるオプション権

	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	Generimod	S1P ₁ 受容体モジュレーター	全身性エリテマトーデス	第3相	APAC地域 (中国を除く) ¹
	Lucerastat	グルコシルセラミド合成酵素阻害薬	ファブリー病	第3相	
優先交渉権 および 優先拒否権	Selatogrel	P2Y ₁₂ 拮抗薬	急性心筋梗塞の疑い	第3相*	
	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	第2相*	
	ACT-1014-6470	C5aR1 拮抗薬	免疫介在性疾患	第1相*	
	IDOR-1117-2520	非開示	免疫介在性疾患	第1相*	
	ACT-777991	CXCR3 拮抗薬	発症早期の1型糖尿病	第1相*	

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

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(百万ドル)		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	23億ドル (2022)	17億ドル (2020/Xyrem)	OX2 作動薬
	その他の神経疾患	-	-	-	CGRP 拮抗薬、GPR52 作動薬
免疫疾患	がん	約4,200万人	1,789億ドル (2022)	210億ドル (2022/Keytruda)	A2a 拮抗薬、EP4 拮抗薬、抗CXCR4 抗体
	炎症性腸疾患	約1,000万人	235億ドル (2022)	75億ドル (2022/Humira)	CCR6 拮抗薬、GPR35 作動薬、EP4 作動薬
	アトピー性皮膚炎	約1,330万人	81億ドル ³ (2022)	70億ドル (2022/Dupixent)	H4 拮抗薬、抗PAR2 抗体
その他	2型糖尿病/肥満	約4.2億人	555億ドル (2021)	88億ドル (2022/Ozempic)	GLP1作動薬
	拒食症	約1000万人	-	-	MC4 拮抗薬
合計			約2,990億ドル/年	約560億ドル/年	

出典(患者数): World Health Organization、Evaluate Pharma、The European Federation of Crohn's & Ulcerative Colitis Associations (EFCCA)、Narcolepsy Network, Inc., 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

出典(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(2022/6/30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

3 該当する疾患区分が無い「Eczema」の市場規模を記載。各種データからは、アトピー性皮膚炎の市場全体の規模は現在記載している市場よりも大きい可能性

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	第1相	第2相	第3相	申請	販売
提携											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティプロ®	LAMA+LABA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
エナジア®	LAMA+LABA+ICS	低分子	喘息	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
オラビ®	抗真菌薬ミコナゾール	低分子	口腔咽頭カンジダ症	Hisamitsu	■	■	■	■	■	■	■
Imaradenant ¹	アデノシンA2a拮抗薬(併用)	低分子	mCRPC	AstraZeneca	■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117568	ムスカリンM4作動薬	低分子	統合失調症	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-07081532 ²	GLP-1作動薬	低分子	2型糖尿病/肥満	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
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	代謝性疾患	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/生物製剤	消化器疾患・その他	Takeda	■	■	■	■	■	■	■
(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。1 A2a拮抗薬は2021年第3四半期にアストラゼネカ社のパイプラインから削除。2 ファイザー社は2023年第2四半期に、Lotiglipron (PF-07081532)の開発を継続しないことを決定しました。

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	第1相	第2相	第3相	申請	販売
共同開発											
KY1051	抗CXCR4抗体	モノクローナル抗体	がん免疫	sanofi	■	■					
(非開示)	PAR-2	ペプチド	炎症性疾患	PeptiDream	■						
(非開示)	AI創薬	低分子	神経疾患	PHARMENABLE	■						
(非開示)	AIによる複数標的の探索	低分子/生物製剤	免疫疾患	verily	■						
(非開示)	脳腸軸に基づく標的の探索	低分子	消化器疾患	KALLYOPE	■						
共同出資											
TMP301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害	TEMPERO BIO	■	■					
ORX750	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー	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	オリジネーター	基礎	前臨床	第1相	第2相	第3相	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	NXeRD							
ダリドレキサント	DORA ¹	低分子	不眠症	NXeRD							
NXE0048149	GPR52 作動薬	低分子	神経疾患	NXeRD							
NXE0039732	EP4 拮抗薬	低分子	がん免疫	NXeRD							
NXE0033744	EP4 作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXeRD							
NXE0027477 ²	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXeRD							
NBI-1117567	ムスカリンM1作動薬(日本)	低分子	神経疾患	NXeRD							
(非開示) ²	H4 拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎	NXeRD							
(非開示)	SARS CoV-2 Mpro 阻害薬	低分子	コロナウイルス感染症	NXeRD							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	神経疾患	NXeRD							
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	NXeRD							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	免疫疾患	NXeRD							
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	NXeRD							
NXE' 097	GLP-1 拮抗薬	ペプチド	低血糖症	NXeRD							
NXE' 023	GLP-2/GLP-1作動薬	ペプチド	腸管障害/ NASH	NXeRD							
(非開示)	Apelin 作動薬	ペプチド	肺動脈性肺高血圧症	NXeRD							
NXE' 641	デュアルオレキシン拮抗薬	低分子	不眠症/睡眠障害	NXeRD							
(非開示)	PAR-2 抗体	モノクローナル抗体	アトピー性皮膚炎	NXeRD							

¹ DORA : デュアルオレキシン受容体拮抗薬

² 戦略変更に伴い、次の適応症が見つかるまでの間、優先順位を下げました。2 パートナーがオプション権を保有

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	Stabilised 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を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 β_2 刺激薬。気管支の交感神経 β_2 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、 β_2 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泡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