

# NXeGO Pharma

日本発の国際的なリーディングバイオ企業に向けて

第43回J.P.モルガン・ヘルスケア・カンファレンス  
2025年1月15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。

クリス・カーギル

代表執行役社長 CEO  
ネクセラファーマ  
(東証:4565)

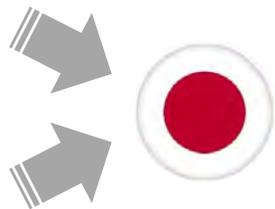


# 創薬から販売までを手掛ける日本発のバイオ医薬品企業

創業



日本に最高のイノベーション  
を届けることを目的に創業し  
...



2015年



...NxWave™ GPCR構造創薬  
プラットフォームをもとに成長...



2024年



...現在は、画期的な医薬品の  
開発・販売を加速

-  5つのグローバル拠点  
東京、ソウル、ケンブリッジ、ロンドン、  
バーゼル
-  400名以上の従業員

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

# 日本の全く新しい製薬企業を目指す

## グローバルの中核的研究拠点



CEO    Research    Finance    COS

### 研究と初期臨床開発

- 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



## バイリンガルの日本チーム



Finance    Development / Medical    Commercial / Operations    Compliance

### 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

## 数字で見る当社の概要

### 概要

**290億円**

年間収益

**360億円**

手元現金

**400名以上**

拠点5カ所の  
従業員数

### 製品および開発プログラム数

- 2** 日本での上市済製品
- 13** 臨床段階のグローバルプログラム(提携)
- 3** 臨床段階のグローバルプログラム(自社開発)

### 重点疾患分野

神経疾患/  
神経精神疾患  
**1,200億ドル以上**  
の市場規模

代謝性疾患  
**1,500億ドル以上**  
の市場規模

免疫疾患/  
消化器疾患  
**3,000億ドル以上**  
の市場規模

### 研究開発活動

- ✓ 最大**400**種類あるGPCRの未創薬領域に焦点
- ✓ **1,500**件に及ぶ特許を取得
- ✓ **10以上**の創薬プログラムが稼働中

証券コード 4565 (東証プライム)

従来型の日系製薬企業とは一線を画し、スピードと業務効率向上に注力

## ネクセラのコアバリュー



イノベーション



本質的な課題解決に集中



スピード



オペレーショナルエクセレンス

### 日本およびAPAC: 開発および商業化

展開地域における重要疾患に注力

加齢関連の疾患やQOLに直結する疾患に注力

経験豊富なチーム

これまでに9件の国内承認を取得

日本で最も効率的な営業チーム

MR1人あたりの売上高は4億円以上

### グローバル: 創薬ビジネス

NxWave™ 創薬プラットフォーム

GPCRに注力 (ムスカリン、オレキシン、インクレチン)

重要疾患領域におけるイノベーション

精神疾患、代謝性疾患、免疫疾患/消化器疾患

世界的なリーダー企業と開発提携

ニューロクライン、ファイザー、アッヴィ、イーライリリー、Centessa等

長期的成長を加速させるために、研究開発投資とライセンス活動に重点を置いた戦略

# 主要な製品および開発パイプライン

## 当社の上市済み製品

1

神経疾患 – 加齢に伴う疾患

ピヴラッツ®

– 脳動脈瘤によるくも膜下出血 (aSAH) 術後の脳血管攣縮発症抑制薬



2

神経疾患 – QOLに関する疾患

クービビック®

– 不眠症治療薬



2030年までに300~350億円の製品売上

(さらにその他複数プログラムの創薬/開発)

## 提携プログラム (当社独自/NxWave™を用いて創薬)

3

神経疾患 – 精神疾患 / 認知機能障害



– ムスカリン作動薬

4

神経疾患 – QOLに関する疾患 - 睡眠



– オレキシン2作動薬

5

代謝性疾患 – QOLに関する疾患 – 2型糖尿病 / 肥満



– GLP-1 作動薬

ピーク時には最大で2,500億円のロイヤリティ収入

(さらにその他複数のプログラムの創薬/開発)

日本における上市製品

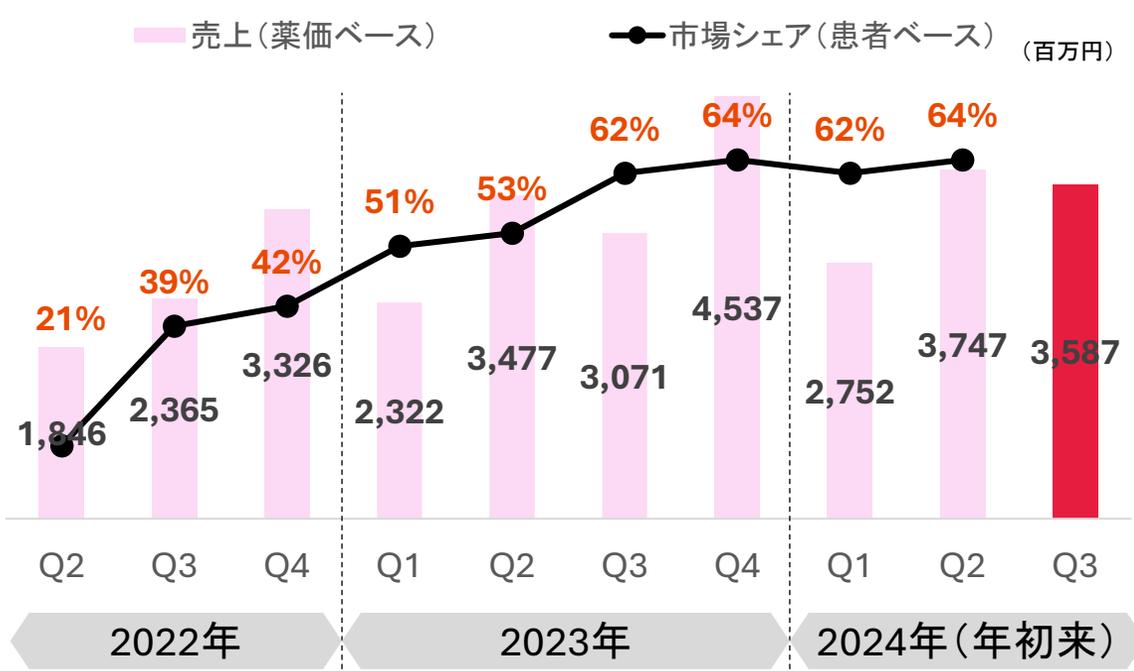


# 1 ピヴラッツ® (クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬)

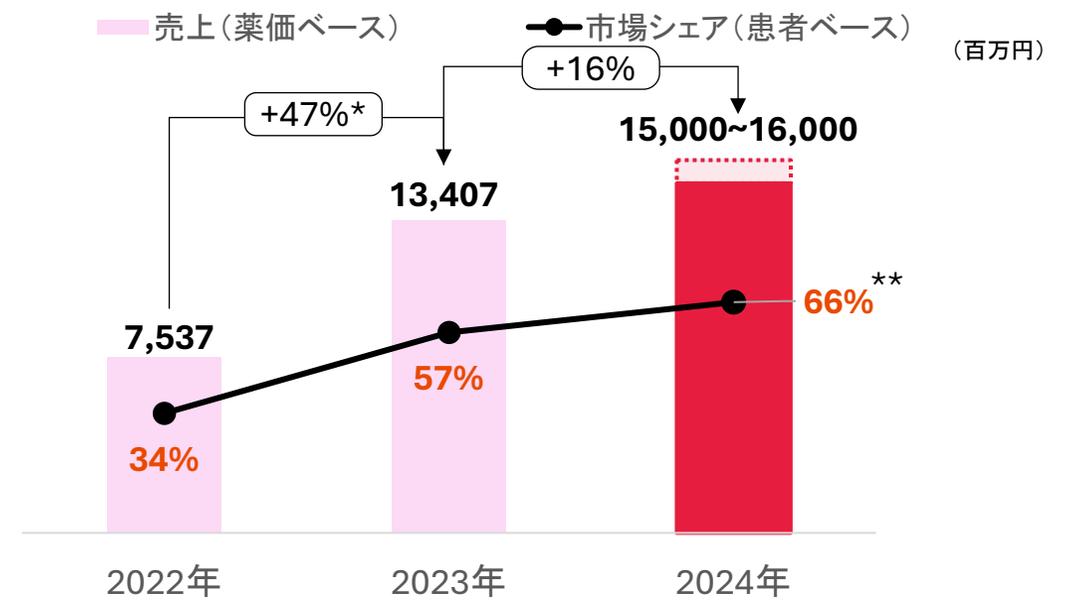
くも膜下出血 (aSAH) 術後の脳血管攣縮予防を目的とした当社初の上市製品



## ピヴラッツ®の四半期売上(薬価ベース)



## 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

出所: MDV DPC hospital data  
\* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、\*\* 過去の傾向からの推定



2

## クービビック® (ダリドレキサント/デュアルオレキシン受容体拮抗薬)

2024年9月に日本で製造販売承認取得。塩野義製薬と提携し12月に発売



不眠症治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬

薬価基準未記載

クービビック®錠 25mg 50mg

### 不眠症治療の重要なアンメットニーズ

 夜間の中途覚醒

 速やかな入眠

 服薬翌日への持ち越し効果

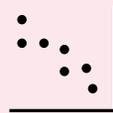
### クービビック®の特徴

 デュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)

オレキシン受容体に対する強力な阻害作用により過度な覚醒状態を緩和

 欧州不眠症ガイドライン

2023年の欧州不眠症ガイドラインで、**オレキシン受容体拮抗薬**で唯一使用できる薬剤として推奨されている<sup>1</sup>

 優れた薬物動態プロファイル

$T_{max}$ : **約0.5~1.4時間**  $T_{1/2}$ : **約6~9時間**

グローバル第Ⅲ相臨床試験で、翌日の眠気/日中機能への有意な改善が確認されている<sup>2</sup>

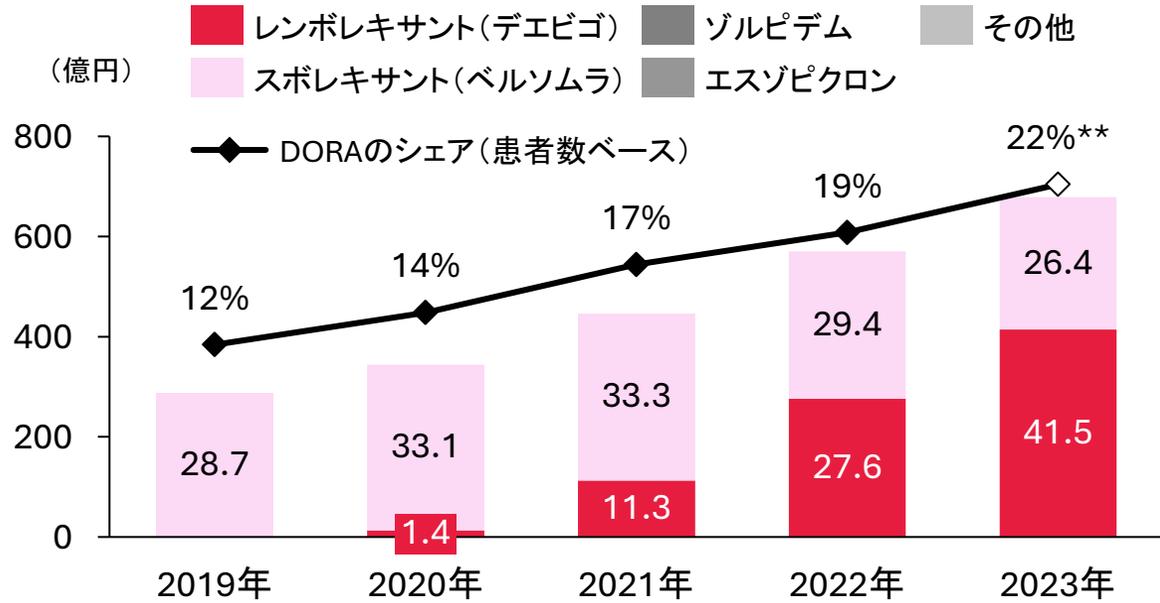
クービビック®はDORAにおけるベストインクラスの薬剤を目指す

## 2 クービビック® (ダリドレキサント/デュアルオレキシン拮抗薬 (DORA))

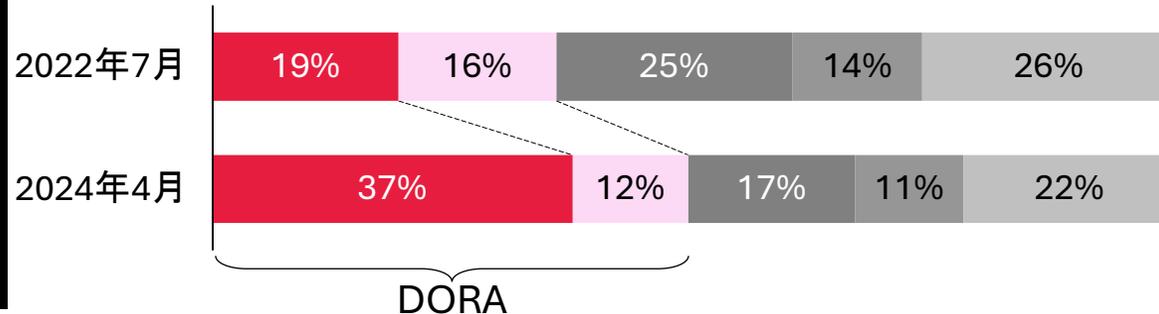
DORAは不眠症治療薬において急速に地位を確立している



薬価ベース売上  
および市場シェア



処方頻度  
(最も処方頻度の  
高い睡眠薬)

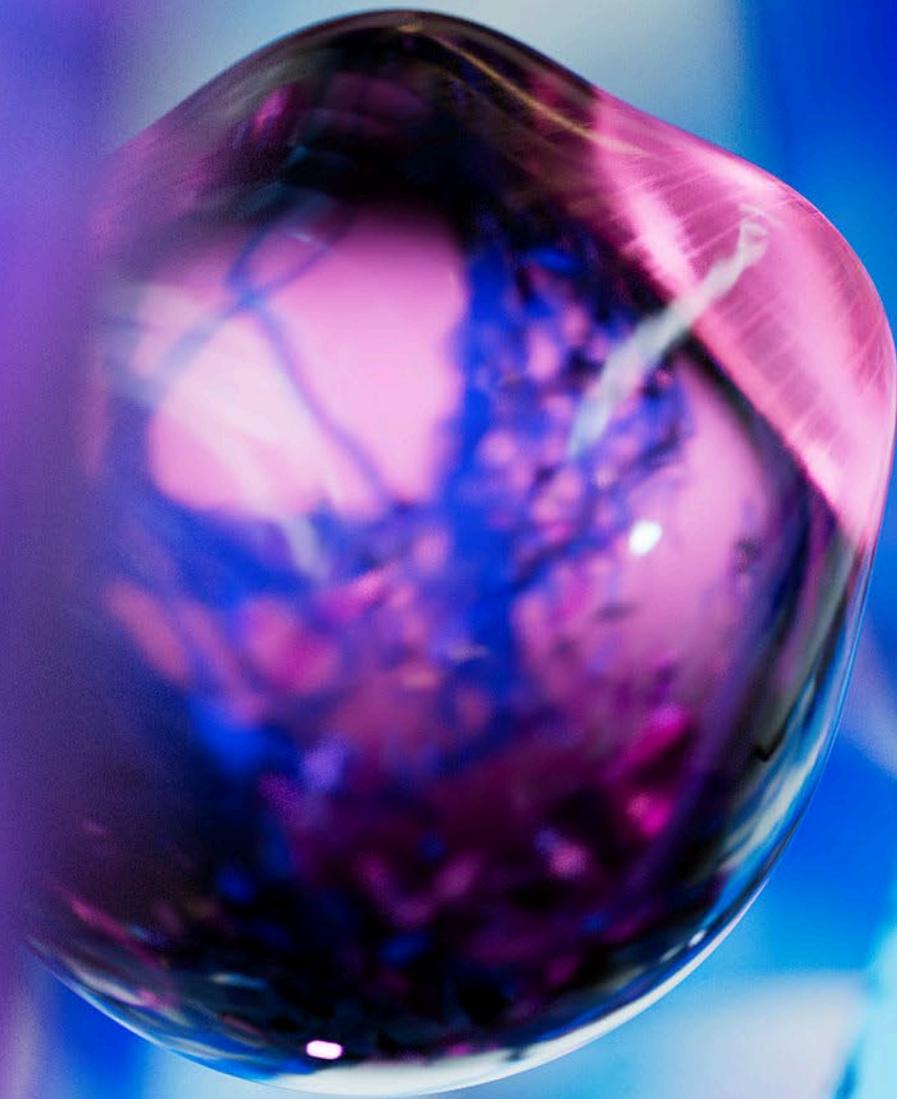


✓ 従来型の抗不安薬・睡眠薬が医師から敬遠される傾向にある日本において、DORAは急速に浸透中

✓ 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10億ドルと推定される

✓ 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

提携パイプライン



### 3 BMS社のCOBENFY™が最近承認されたことにより、ムスカリン受容体作動薬は統合失調症治療薬における数十年ぶりの新たな作用機序として注目されている



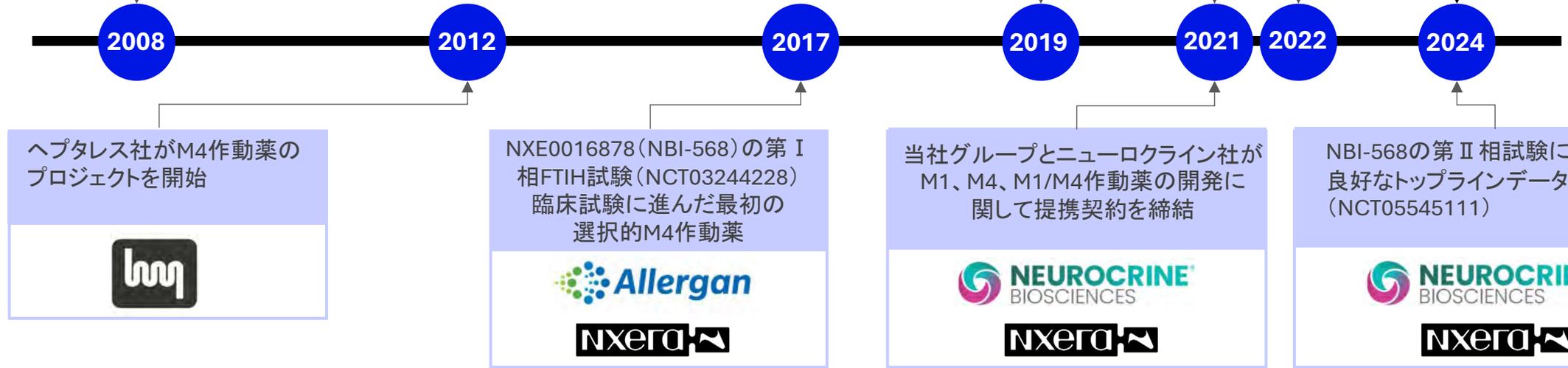
**Article**  
 Selective Muscarinic Receptor Agonist Xanomeline as a Novel Treatment Approach for Schizophrenia  
 統合失調症におけるザノメリンの有益性に関する初の臨床的証拠。小規模臨床試験(N=10)、PANSSおよびBPRSの臨床的エンドポイントに有意な効果  
 Shekar et al Am J Psychiatry 2008; 165:1033-1039

**KARUNA THERAPEUTICS**  
 統合失調症に対する第II相試験でKarXTが良好な結果

**cerevel**  
 M4 PAM (Emraclidine) が第I b相試験で良好な結果

**KARUNA THERAPEUTICS**  
 統合失調症に対する第III相試験でKarXTが良好な結果

**Bristol Myers Squibb™**  
**KARUNA THERAPEUTICS**  
 COBENFY™ が2024年9月26日にFDA承認取得

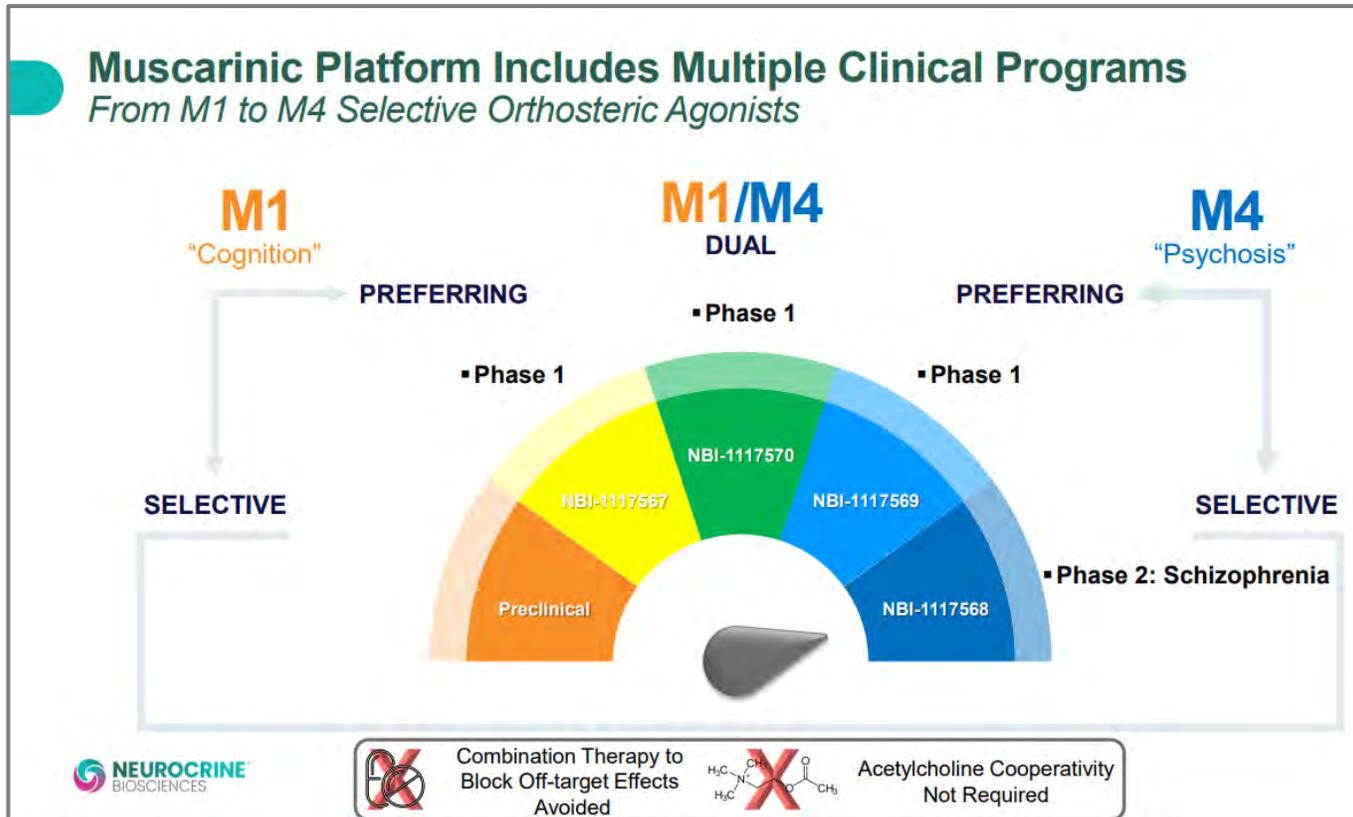


当社研究チームは10年以上前からムスカリン受容体作動薬の研究に取り組んでいる。  
 様々な適応症においてベストインクラスの薬剤を目指せる可能性

注: NBI-568は臨床試験中の薬剤であり、いかなる用途においても規制当局からは未承認



### 3 ニューロクライン社は世界で最も広範なムスカリンオルソステリック作動薬ポートフォリオを開発中 – NxWave™を用いて当社が創出



#### ハイライト

- NxWave™プラットフォームを活用し標的受容体に対し有効性を示す低分子群を構造をもとに創出
- 包括的なアプローチにより、ムスカリン受容体作動薬の可能性を最大化
- 最も開発が進んでいるNBI-568は、M4選択的オルソステリック作動薬であり、2024年に第II相臨床試験を完了。第III相試験に加え、適応拡大に向けた追加試験も計画されている

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



**3** NBI-568は2025年前半に統合失調症を対象とした第Ⅲ相臨床試験を開始予定   
 Nxera Pharma UKが独自のNxWave™技術を用いて創出した化合物が初めて第Ⅲ相臨床試験に進捗



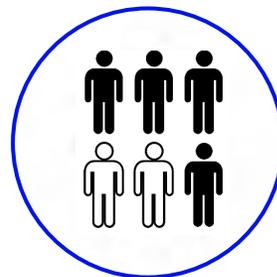
**臨床的に有効**  
 20mg投与の有効性は  
 競合他社製品と同等



**良好な忍容性**  
 試験したすべての用量で  
 服薬遵守が良好となる可能性



**利便性が向上**  
 1日1回の投与かつ  
 食事の影響はない



**広範な適応症**  
 M4作動薬が有効と言われる  
 適応症は複数存在

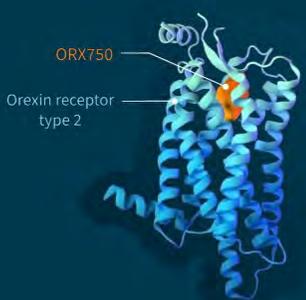
NBI-568の第Ⅱ相臨床試験は成功し、第Ⅲ相臨床試験に進むための安全性、忍容性および有効な用量を確認  
 2025年上半期にはさらに以下の第Ⅱ相臨床試験が計画されている:

(i) NBI-568 (M4作動薬): 双極性障害を対象、(ii) NBI-570 (M1/M4デュアル作動薬): 統合失調症を対象

注: NBI-568は試験中の薬剤であり、規制当局によりいかなる用途においても承認されていません。

4 Centessa 社がナルコレプシー1型や  CENTESSA PHARMACEUTICALS  
 その他適応症に対する治療薬の開発を目指し、  
 OX2作動薬ORX750の第Ⅱ相試験を実施中  
 – NxWave™を用いて創出

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



ORX750  
 Orexin receptor type 2

**ORX750**  
 Highly potent, selective  
 OX2R agonist

- **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

 CENTESSA PHARMACEUTICALS

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

Source: Centessa, Pfizer investor presentations

5 ファイザー社が1日1回投与の   
 低分子GLP-1作動薬PFE'522について、  
 2型糖尿病・肥満症を対象とした第Ⅰ相試験を実施中  
 – NxWave™を用いてファイザー社が創出

**Select Pipeline Advancements in Internal Medicine\***



**Cachexia<sup>1</sup>**

- **Ponsegromab**
  - Weight increases at all doses in Phase 2 cancer cachexia study, with improvements in appetite, cachexia symptoms, physical activity, muscle mass at highest dose
  - Aim to start registration-enabling study in 2025

**Obesity**

- **Danuglipron**
  - Expected 1Q25 update will inform registration enabling studies
- **Oral small molecule GIPR antagonist phase 2** expected to start in 2024
- **Once-daily GLP-1 in Phase 1**

**Strategic focus on portfolio prioritization and continued improvement of productivity metrics**

 Third Quarter 2024 Earnings

\*See Slide 29 for Glossary, Select Pipeline Assets  
 1. Wasting (muscle mass loss with or without fat loss) due to severe chronic illness.  
 GIPR=glucose-dependent insulinotropic polypeptide receptor; GLP-1=glucagon-like peptide 1

15

ファイザー社は代謝性疾患の経口低分子化合物に全力を傾注。  
 利便性・コスト効率が高くスケラブルな製品のニーズは大きい

成長を続ける自社パイプライン

# 神経疾患と免疫疾患の新規プログラムは、Wave 1、Wave 2での上市を狙っていく

ライセンスに関する  
オプション権を保有



当社が創出

当社が創出



当社が創出



化合物・開発段階

NXE-149 (第 I b相)

NXE-732 (第 I 相)

NXE-744 (第 I 相)

適応

統合失調症

進行性固形がん

炎症性腸疾患

グローバル患者数

2,400万人

1,800万人

1,000万人

作用機序

新規の選択的GPR52  
受容体作動薬

選択的EP4受容体拮抗薬  
(PD-L1との併用)

新規の選択的EP4  
受容体作動薬

新規性

ファーストインクラス

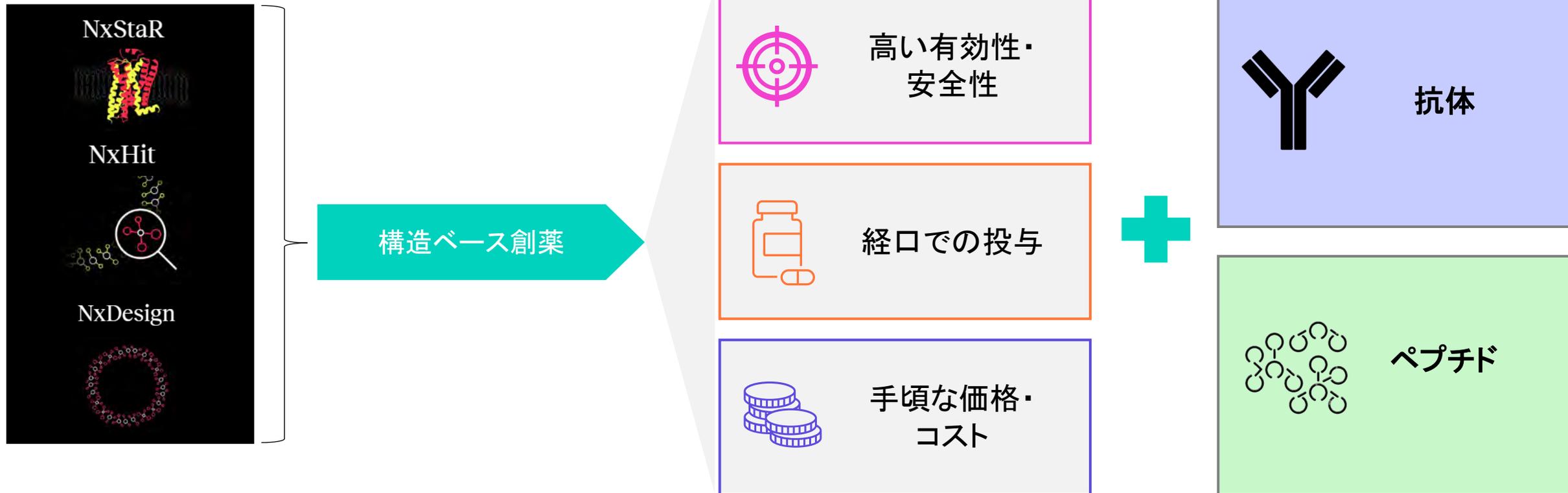
ベストインクラス

ファーストインクラス

利便性・コスト効率が高く、製造が容易な経口低分子薬を設計し、主要疾患の治療に変革を起こしていく

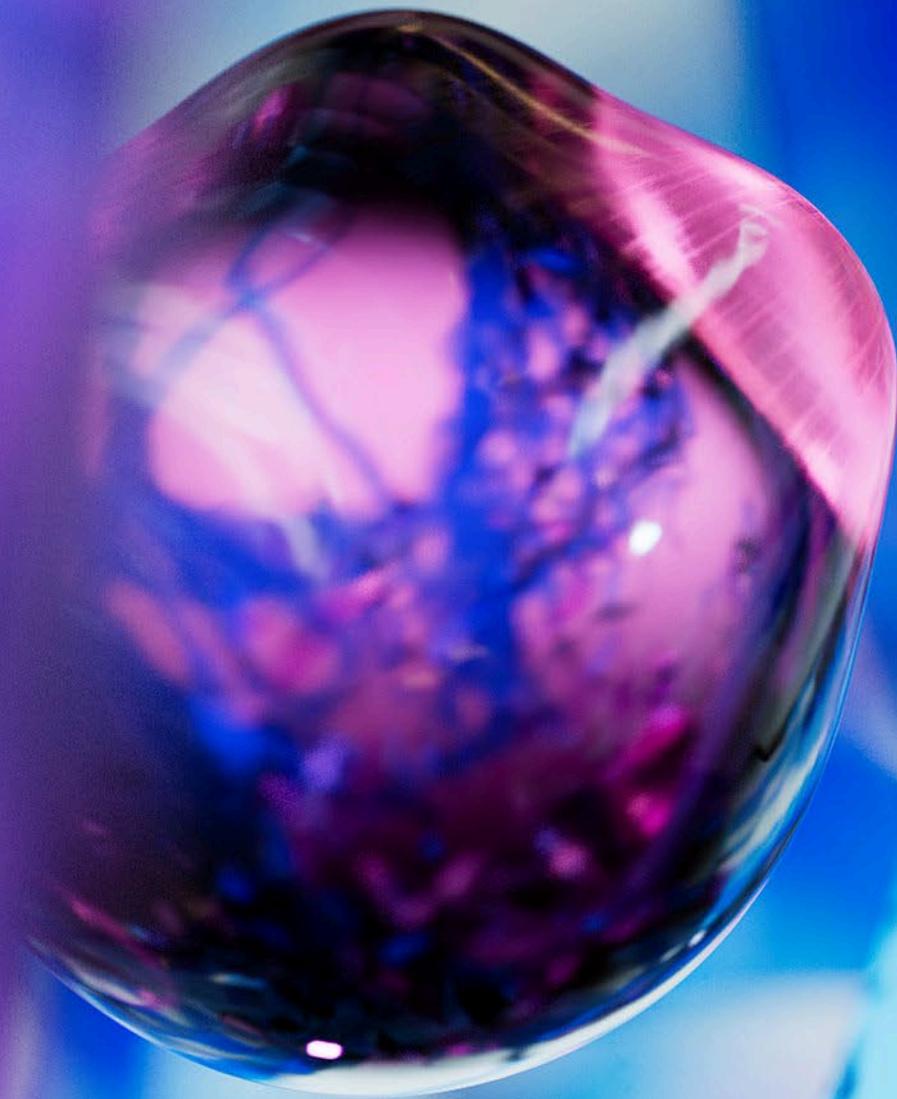
# GPCRに対する世界で最も包括的な創薬プラットフォームを活用 – NxWave™

## NxWave™プラットフォーム

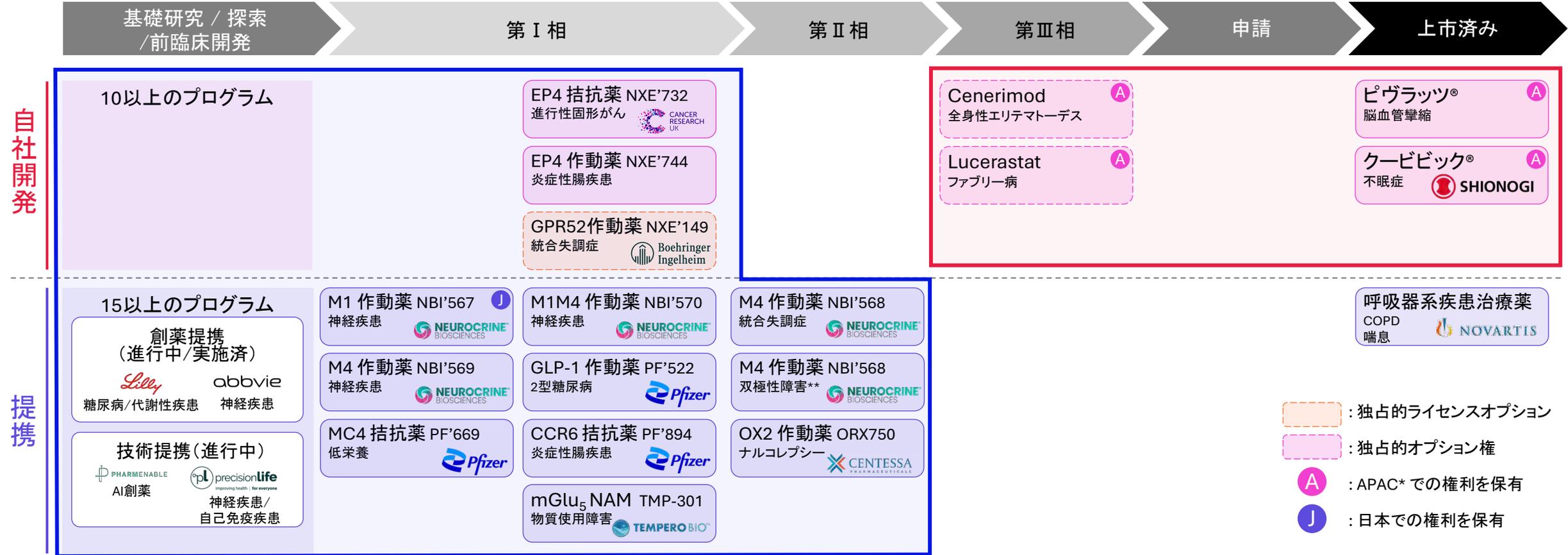


当社の強みは低分子創薬だが、低分子で対応できないニーズに対しては  
NxWave™プラットフォームを他のモダリティに拡大

# 当社ビジネスの全体像



# 2つの上市済み製品含む、幅広くバランスの取れたパイプライン



パイプラインは開発後期段階へと急速に進捗しつつある

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。

\* 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。

\*\* Phase 2 readyの段階

# Wave 1 & Wave 2は、市場規模の極めて大きな疾患領域で開発中

		WAVE1 (2030年までに上市予定)	WAVE2 (2035年までに上市予定)
神経疾患	市場規模 (2030年) 1,200億ドル以上	 <b>TEMPERO BIO™</b> P1 mGlu5 NAM 物質使用障害  <b>CENTESSA</b> P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー  <b>NEUROCRINE</b> BIOSCIENCES P2 M4 作動薬 統合失調症 P2 M4 作動薬 双極性障害 P1 M4/M1 作動薬 統合失調症	 <b>CENTESSA</b> PHARMACEUTICALS 前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する 睡眠障害  <b>NEUROCRINE</b> BIOSCIENCES P1 M4 作動薬 P1 M1 作動薬 認知機能障害、精神疾患  <b>NXERO</b> P1 GPR52 作動薬 統合失調症  <b>abbvie</b> 創薬 複数ターゲット 神経疾患
代謝性疾患	市場規模 (2030年) 1,500億ドル以上	 <b>Pfizer</b> P1 GLP-1 作動薬 2型糖尿病 / 肥満症 P1 MC4 拮抗薬 低栄養	 <b>Lilly</b> 創薬 複数ターゲット 2型糖尿病 / 肥満症 など
免疫・消化器	市場規模 (2030年) 3,000億ドル以上	 <b>Pfizer</b> P1 CCR6拮抗薬 炎症性腸疾患  <b>NXERO</b>  <b>CANCER RESEARCH UK</b> P1 EP4拮抗薬+PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法	 <b>NXERO</b> 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)	数十億ドル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

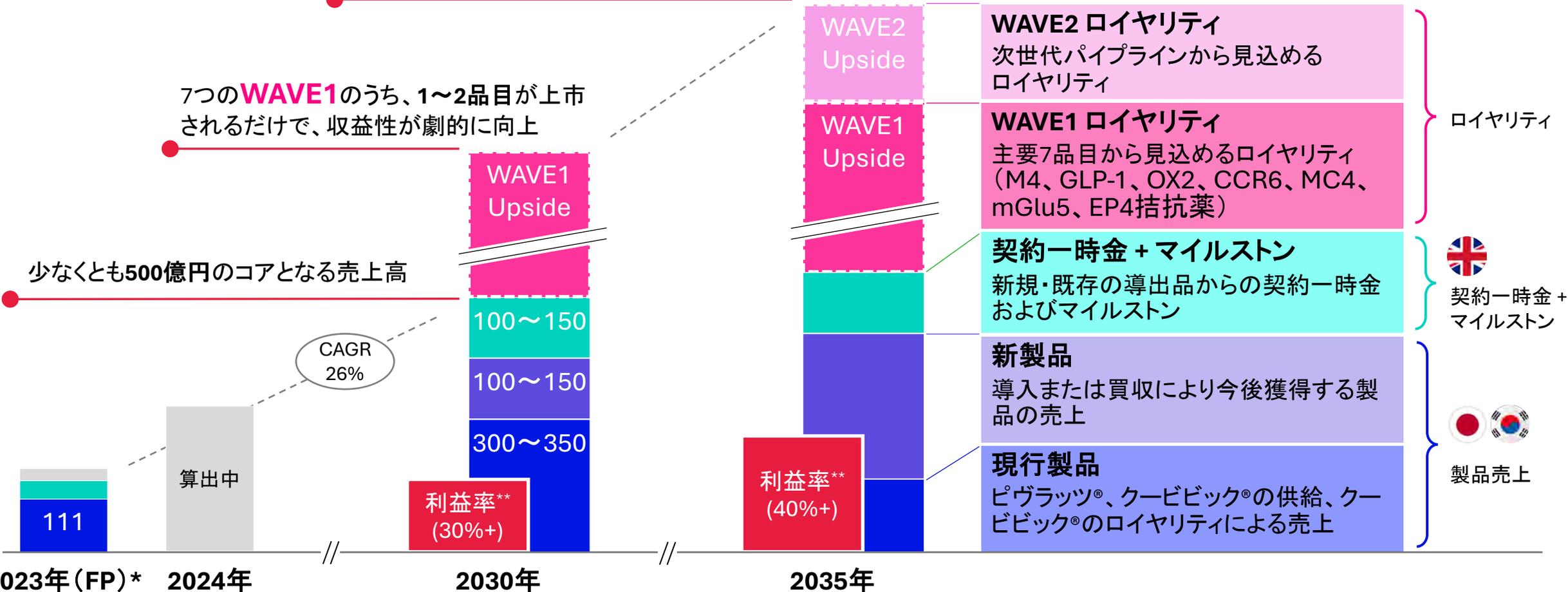
CAGR  
26%

算出中

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しています。

\*\* WAVE1とWAVE2のロイヤリティは除外。

## 2025年に見込まれるイベント\*

開発プログラム	提携先	時期	イベント
TMP-301 (mGlu5 NAM)		2025年Q1	アルコール依存症を対象とした第II相臨床試験開始
Cenerimod (S1P1) / Lucerastat		2025年Q1	オプション権行使の判断
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	2025年Q1	進行性固形がんを対象とした第IIa相臨床試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年上期	統合失調症を対象とした第III相臨床試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年下期	双極性障害を対象とした第II相臨床試験開始
NBI'570 (M1/M4作動薬)		2025年下期	統合失調症を対象とした第II相臨床試験開始
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第II相臨床試験開始
NXE'149 (GPR52受容体作動薬)	 	2025年下期	第Ib相臨床試験完了
ORX750 (OX2受容体作動薬)		2025年下期	第II相臨床試験データ取得 (NT1/NT2/特発性過眠症)
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	第I相臨床試験データ取得
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

2030年のビジョン実現に向けた大きな一年

\*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

## 日本で最も革新的なバイオフーマへ

	創業年	IPO / 上場	時価総額	モダリティ	非臨床 プログラム数	臨床 プログラム数
	2019	ナスダック (2024)	600百万ドル	低分子、 生物製剤	3+	1
	2019	ナスダック (2024)	890百万ドル	低分子	3+	1
	2019	ナスダック (2023)	1,493百万ドル	低分子	4	2
	2007*	東証プライム	560百万ドル	低分子、ペプチド、 生物製剤	25+	13

中長期での成功を可能とする創薬プラットフォームとパイプライン

出所：各社説明資料、FactSet as at 10-Jan-2025

\* Heptares Therapeutics Ltd (現Nxera Pharma UK Limited) の創業年

\*\* Nxera Pharma UK Limitedの従業員数

# Questions?



Thank you

# 日本は当社が創業した地であり、APAC全体の成長にとって最も重要な市場

## 広く認識されているヘルスケア上の課題

- 人口の高齢化
  - 2025年には日本人の約3人に1人が65歳以上になる
  - 加齢に伴う疾患や、QOLに関連した疾患が多く、現在も急速に増加
- 神経疾患が増加傾向
  - メンタルヘルス疾患への関心の高まり
  - 精神・神経疾患の治療が必要な患者は、過去10年間で2倍に増加
- ドラッグラグ・ロスの問題
  - 世界で承認されている数百種類の医薬品が日本では未承認

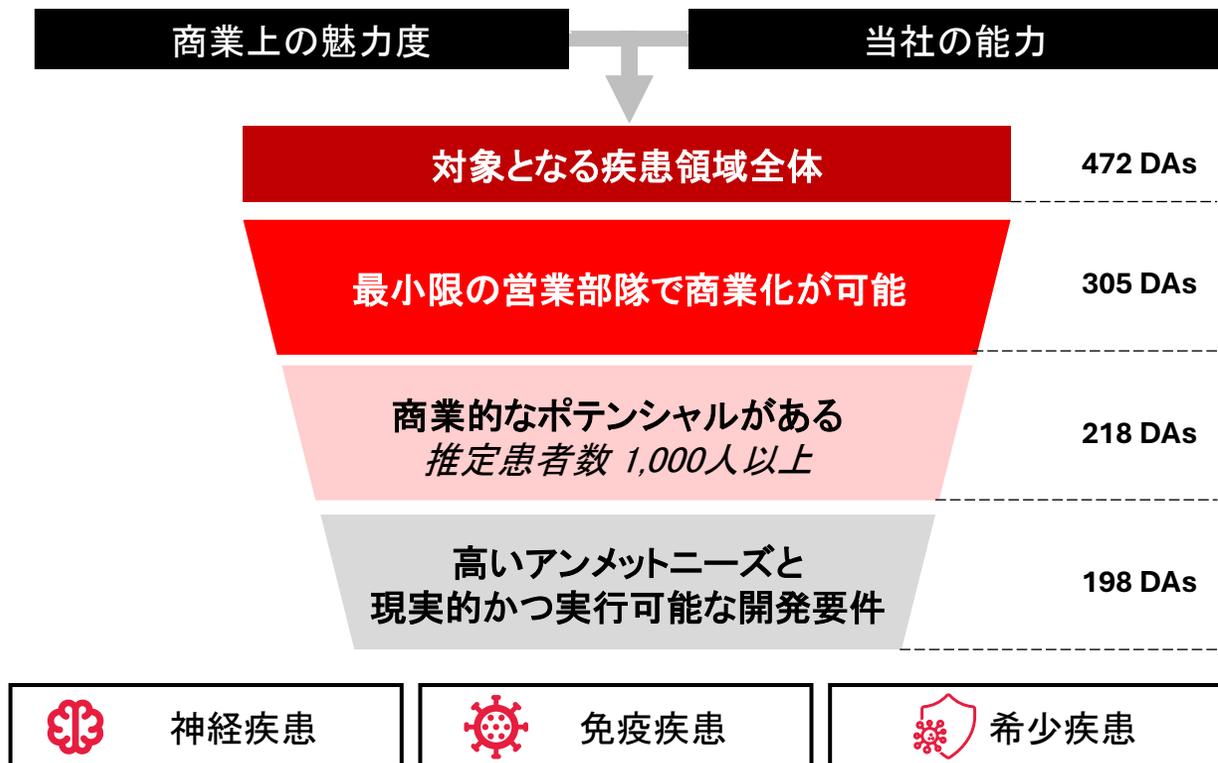
## ビジネスを行うのに最高の環境

- 安定した成長市場
  - 世界がますます不安定になる中、日本はビジネスを行う上で非常に安定した場所である
- 世界で2番目に大きな医薬品市場(中国除く)
  - 市場規模は850億ドルで、さらに拡大傾向
- 政府の支援と規制変更の動きに期待
  - 国民皆保険制度
  - イノベーションと小児用医薬品開発に対する薬価優遇策
  - FDAとの連携強化に加え、様々な開発戦略が可能に

日本において、神経疾患(加齢関連もしくはQOLに関連した疾患)、免疫疾患および希少疾患の治療薬にフォーカス

# 日本、韓国およびAPACにおける医薬品開発の最適なパートナーとなっていく

## 日本およびAPACで当社の注力領域となる疾患領域



## 20品目以上を対象とした積極的なインライセンス交渉



50以上の案件を評価



20以上の開発品候補を優先:

- ピーク売上高で150~500億円の可能性
- 魅力的な適応症で差別化が可能



7件がタームシート\*または契約締結段階

2025年も新たな製品機会を積極的に追求

\* 契約における主要な条件を記した文書。契約締結交渉の前段階  
出所: 当社分析

# リードプログラムのNBI'568は2024年下期に第Ⅱ相試験で良好な結果を達成



統合失調症の患者において、1日1回の20mg投与で良好な有効性および安全性/忍容性

<p>臨床的に意味があり 統計的にも有意な有効性 (1日1回の20mg投与)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ PANSS合計スコアの変化幅 <span style="float: right;">-18.2</span></li> <li>➤ PANSS合計スコアの変化幅(プラセボとの差) <span style="float: right;">-7.5 (p = 0.011)</span></li> <li>➤ 効果量 <span style="float: right;">0.61</span></li> <li>➤ Marder因子スコアの変化幅(プラセボとの差):             <ul style="list-style-type: none"> <li>• 陽性症状 <span style="float: right;">-3.0 (p=0.004)</span></li> <li>• 陰性症状 <span style="float: right;">-1.9 (p=0.028)</span></li> </ul> </li> </ul>	<p>主要評価項目および追加評価項目を達成し、<u>陽性症状および陰性症状の両方に対する有効性が認められた</u></p>
<p>すべての投与量において 安全性・忍容性は概ね良好</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 投与中止率 <span style="float: right;">5.0%</span> (NBI-1117568投与群における有害事象由来のもの) <span style="float: right;">(プラセボ : 4.3%)</span></li> <li>➤ 消化器(GI)・心血管(CV)の有害事象発生頻度 <span style="float: right;">プラセボと同程度</span> (Cobenfy(BMS/Karuna) : タイプラセボ比で3-5倍(GI)、~4倍(CV))</li> </ul>	<p>NBI'568の<u>すべての投与量で安全性および忍容性が示された</u></p>
<p>早急に第Ⅲ相臨床試験を 開始予定</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 第Ⅱ相試験の良好な結果によるマイルストーン受領 <span style="float: right;">35百万ドル</span></li> <li>➤ 第Ⅲ相臨床試験 <span style="float: right;">2025年上期開始予定</span></li> <li>➤ 双極性障害を対象とした第Ⅱ相試験 <span style="float: right;">2025年下期開始予定</span></li> <li>➤ ムスカリン作動薬ポートフォリオの<u>後続化合物を開発中</u></li> </ul>	<p>ムスカリン作動薬 ポートフォリオの <u>拡張可能性</u></p>

出所: ニューロクライン社プレゼンテーション資料(2024年8月28日)、KarXT for Schizophrenia draft evidence report(2023年11月28日)

