

# NXeGO Pharma

2024年12月期決算説明資料

2025年2月14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、IFRSIに従って計算された財務実績のデータではなく、IFRSI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、IFRSIに従って報告された当企業の実績の分析の代用としてではなく、それに追加して扱うべきです。

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

## 目次

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

# 連結業績

執行役副社長CFO 野村広之進

01

## 2024年12月期(1月-12月)業績ハイライト

M&Aと提携先の開発進捗に伴い売上が大きく成長、一過性のノンコア費用の多くが2024年で終了

### 売上

#### 売上収益は288億円(126%増 | 前期: 128億円)

- ピヴラッツ®: 市場への浸透と通期での売上貢献(前期は5か月間)により、61億円から127億円に成長
- マイルストーン: 提携先の開発進捗に伴い、23億円から112億円に増加

### 利益

#### コア営業利益は36億円(前期: 31億円の損失)

- 統合の進捗に伴い、研究開発費及び販管費が期初の想定よりも圧縮
- 営業利益は54億円の損失(前期: 95億円の損失)
  - M&Aに伴う売上原価の調整や、一過性の統合費用を含め、全体として90億円のノンコア費用を計上
  - M&Aに伴う売上原価の調整や、一過性の統合費用の大半は2024年で終了

### 現金

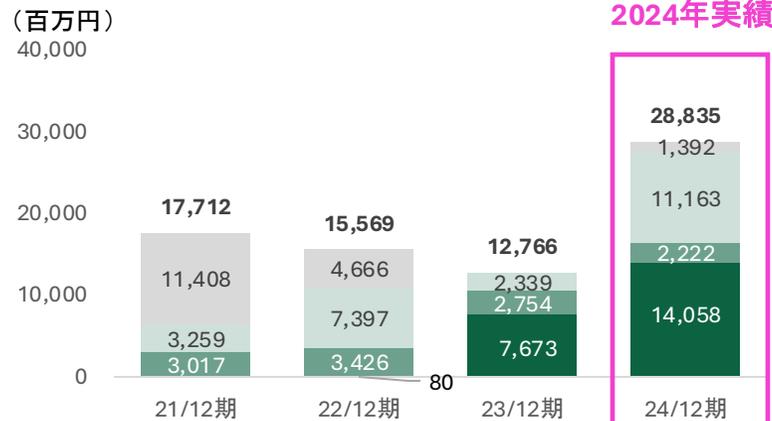
#### 現金・現金同等物・定期預金は362億円(前期: 490億円)

- クービビック®の販売増加下で安定供給を確保すべく、原薬(今後1年超の供給に相当)を先行して購入

# 主要決算数値

NPJ/NPKの製品販売とコストベースが通期で加算。提携プログラムが大きく進展しマイルストーンが増加

## 売上収益



### 契約一時金<sup>1</sup>

### マイルストーン<sup>2</sup>

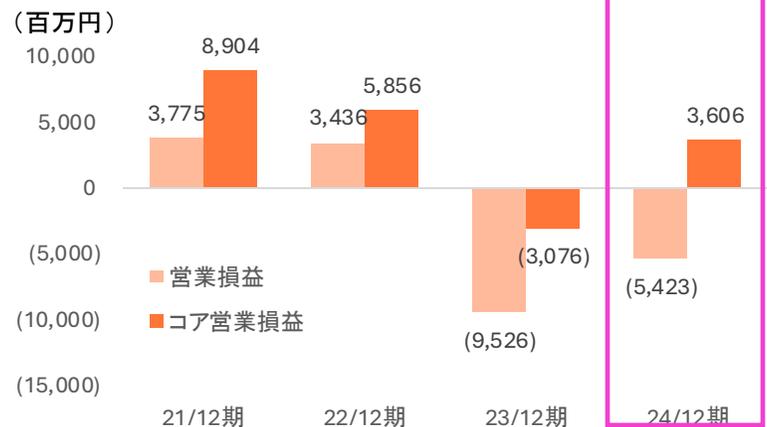
### ロイヤリティ/その他

### 医薬品販売

## 主な変動要因

- ベーリンガー社とのライセンスのオプション契約を締結(3月)
- M4進展によるニューロクライン社からマイルストーン15百万ドル(4月)
- アッヴィ社からマイルストーン10百万ドル(6月)
- M4のフェーズ2試験成功によりニューロクライン社からマイルストーン35百万ドル(9月)
- ノバルティス社の呼吸器系ポートフォリオからのロイヤリティは減少
- ピヴラッツ®の販売額が増加し、2024年は通期で寄与

## 営業損益



### 研究開発費

### 売上原価

### 販売費及び一般管理費

- 臨床試験のための研究開発活動への投資増
- NPJ/NPKの研究開発費が通期で加算
- 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®の在庫分に対して売上原価に加算
- NPJ/NPK関連の管理費が増加
- 社名変更を含む統合費用
- 無形資産の償却費の増加(ピヴラッツ®関連)

<sup>1</sup> 契約開始時に認識された契約一時金

<sup>2</sup> マイルスト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

M&Aによる非現金支出および一時的支出費用が2024年は通年で影響

(百万円)	NPC / NPU*1	+	NPJ / NPK*2	=	連結損益(コア)	+	非現金支出費用	+	一時的支出費用	=	連結損益(IFRS)
売上収益	14,847		13,988		28,835						28,835
売上原価 + 販売費及び 一般管理費	(7,015)		(8,963)		(15,978)		A (2,401) 売上原価調整額 B (1,362) 無形資産の償却費 C (1,160) 統合関連費用 D (2,730) その他				(23,630)
研究開発費	(9,258)		(1,242)		(10,500)		D (1,316)				(11,816)
その他収益	1,272		(23)		1,249		D (60)				1,189
営業損益	(154)		3,760		コア営業損益 3,606		合計: 9,029				OP (5,423)

## M&A関連

- A 買収時におけるピヴラッツ®の在庫分に対して売上原価に加算。2024年第3四半期に完了。2024年4Q以降には発生しない。
- B 無形資産の償却(現在はピヴラッツ®のみ該当)。2025年以降は年間1,800百万円程度を見込む。
- C システム統合費用やブランド再構築費用を含む統合費用。2025年には大幅に減少予定。

## 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、株式報酬費用およびその他構造改革費用

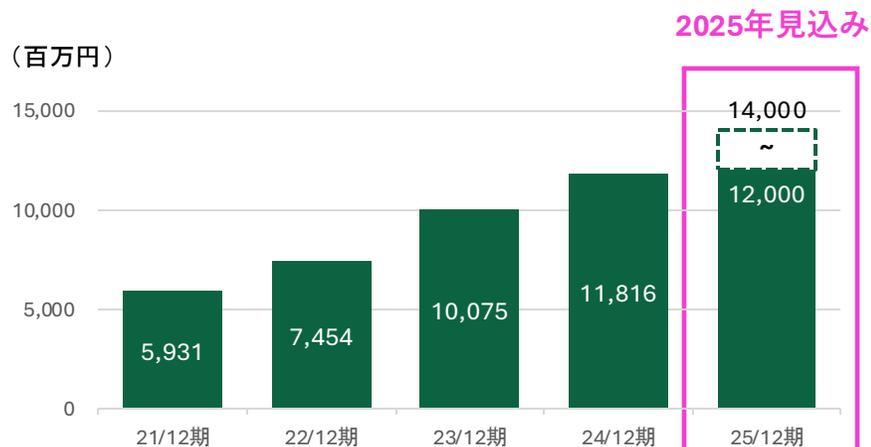
\*1 = ネクセラファーマ株式会社(旧そーせいグループ株式会社) + Nxera Pharma UK Ltd(旧Heptares Therapeutics Ltd.) + 旧株式会社そーせい

\*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)



## 2025年12月期の費用見込み

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

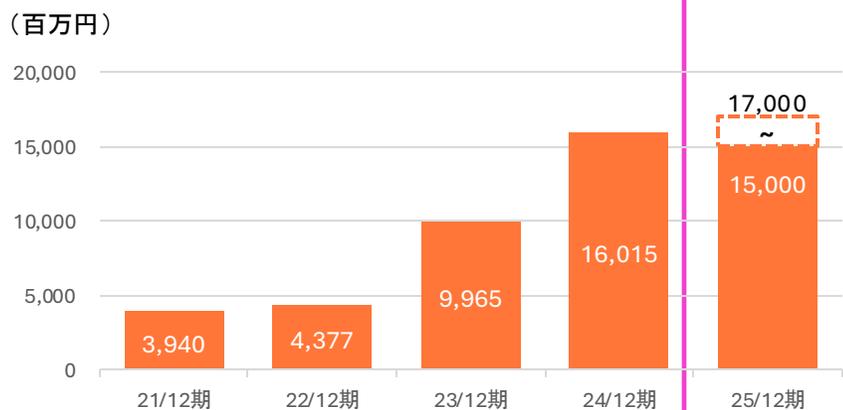


### 研究開発費 (IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円

#### 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)

15,000百万円～17,000百万円

#### 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

# ビジネスハイライト

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル

02



## 2024年の目標 の振り返り

- |    |   |  |
|----|---|--|
| 01 | ピヴラッツ®の売上高 <u>150~160億円</u> (薬価ベース)  | 152億円  |
| 02 | ダリドレキサントの日本での <u>承認取得</u>   |  2024年9月  |
| 03 | 日本とAPAC (中国を除く) 市場向けに、 <u>1品目以上</u> の後期開発品の取得もしくは導入   | 複数の案件が進行中  |
| 04 | 1つ以上の価値の高い提携契約の締結、 <u>自社によるフェーズ1試験を1つ以上開始</u>   |  GPR52作動薬  <b>Boehringer Ingelheim</b><br> EP4作動薬 (自社開発)<br>  <b>クービブロック錠</b> <small>不特定治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬</small> <small>【医薬品承認済】</small> <b>25mg 50mg</b>  <b>SHIONOGI</b> |
| 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 <u>PMI投資を実施</u>  |  予定通り実行   |

## 強固な基盤を有するグローバルバイオ企業として躍進

### 会社全体の重要な進展

- ✓ Sosei Heptaresからネクセラファーマへのリブランディング
- ✓ 新しいCOOとCMOの就任によりマネジメントチームを強化
- ✓ 新ブランドコンセプトとITインフラへのPMI投資

### 英国における研究開発

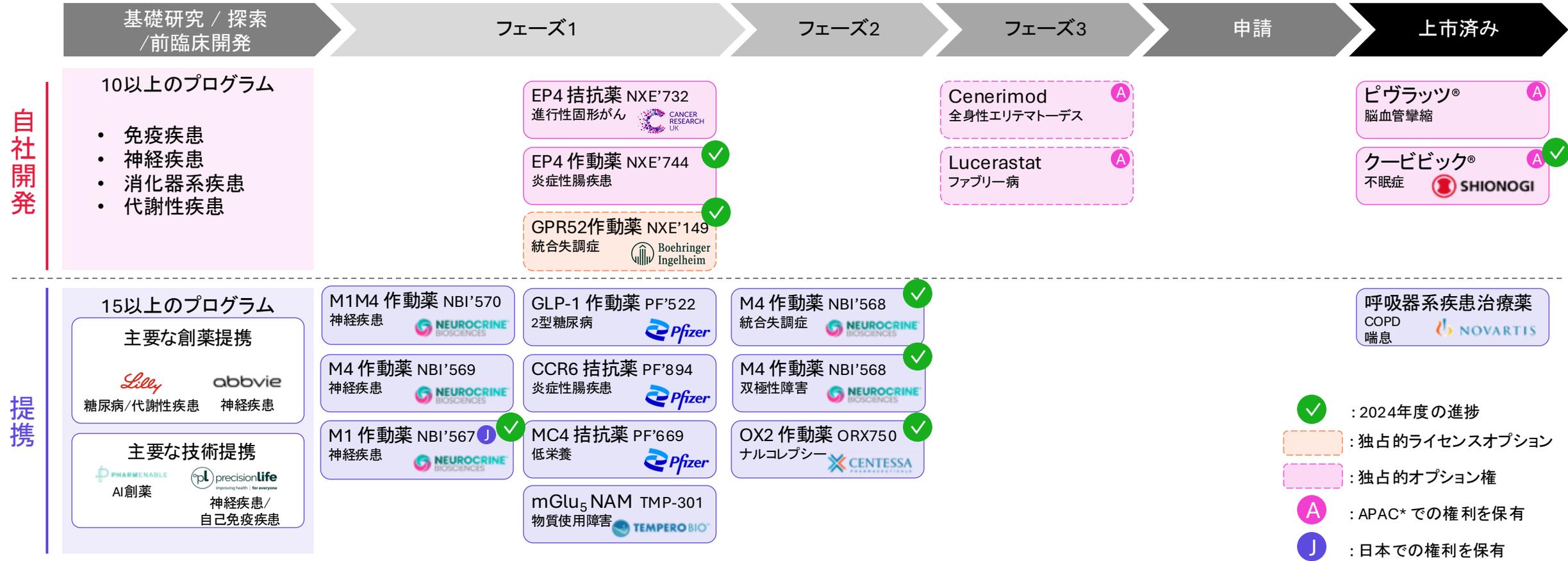
- ✓ ベーリンガーインゲルハイム社とライセンスのオプション契約を締結(GPR52作動薬)
- ✓ NBI-568(M4作動薬) フェーズ2試験で良好な結果
- ✓ ORX750(OX2作動薬) フェーズ2試験開始
- ✓ NBI-567(M1作動薬) フェーズ1試験を開始
- ✓ NXE'744(EP4作動薬) フェーズ1試験開始

### 日本・APAC事業

- ✓ ピヴラッツ®は日本で強固なポジションを確立
- ✓ クービビック®の日本での承認取得と上市
- ✓ 塩野義製薬とクービビック®の販売提携を締結
- ✓ 韓国でダリドレキサントのフェーズ3試験を開始

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

# 2つの上市済製品含む、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

\* 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。

# サイエンスを武器に、商業的価値の高い領域で戦っていく

## 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/APACでの開発販売事業

執行役副社長 ネクセラファーマジャパン代表取締役社長  
杉田 真

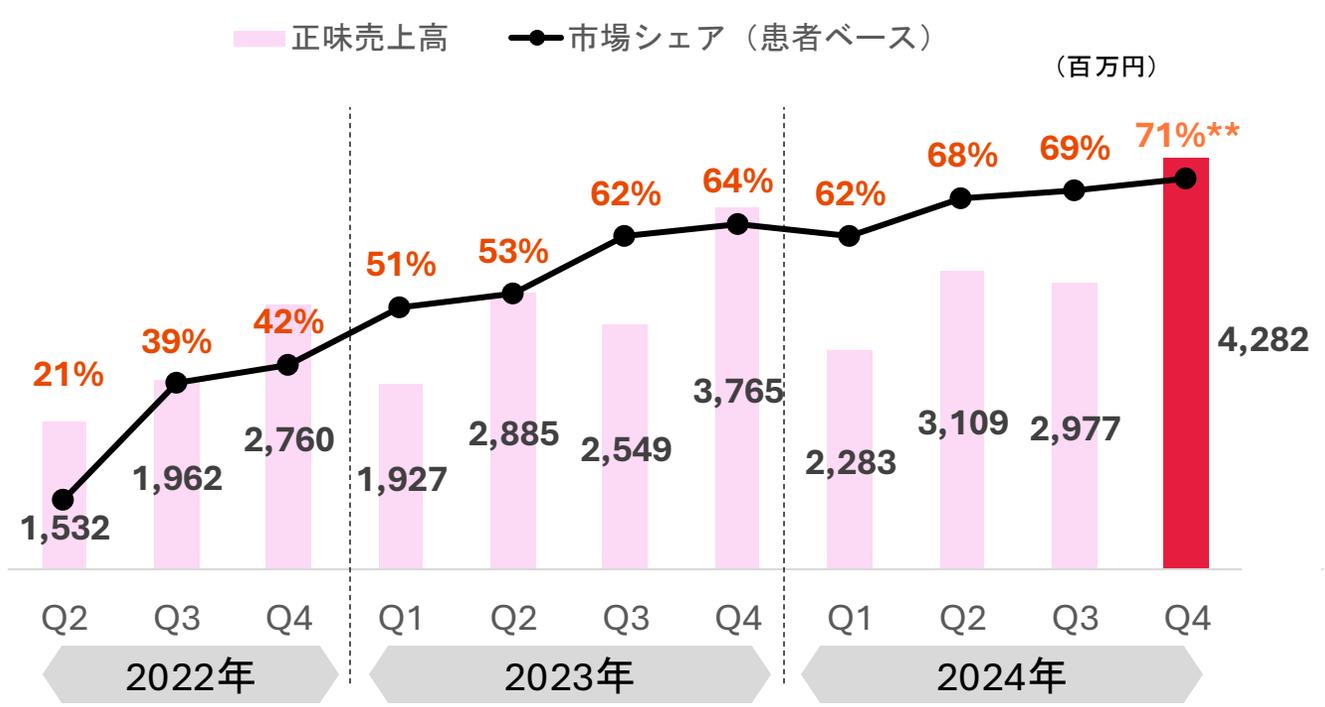
03

# 1 ピヴラッツ® (クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬)

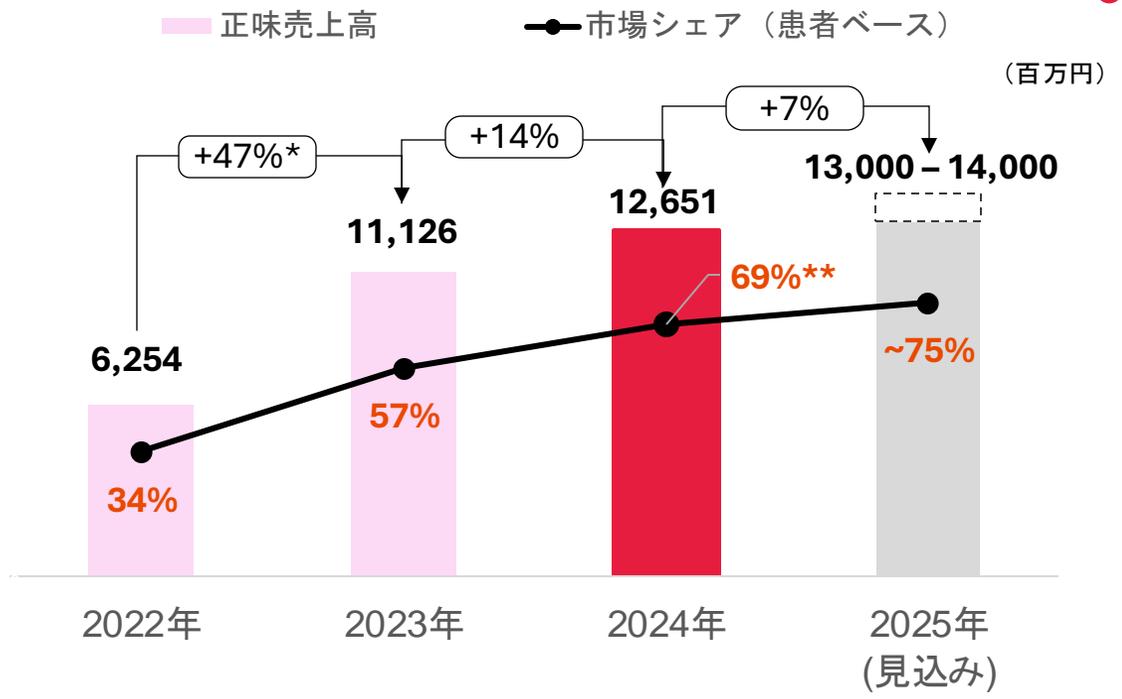
くも膜下出血 (aSAH) 術後の脳血管攣縮予防を目的とした当社初の上市製品



## ピヴラッツ®の四半期売上



## 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

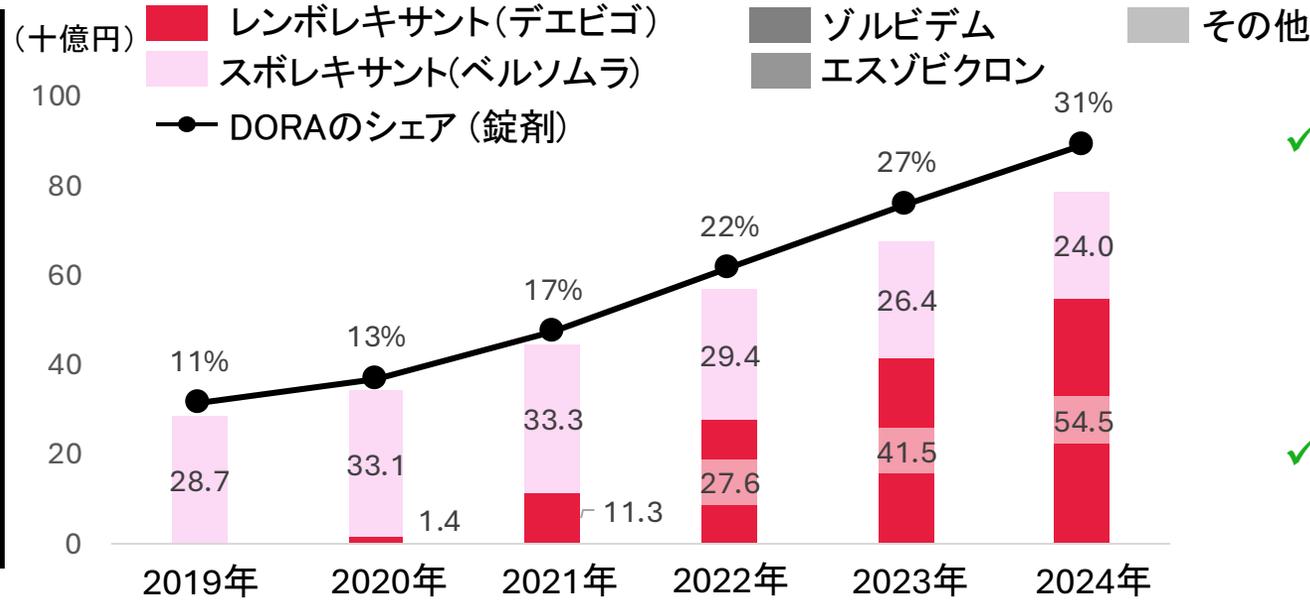
出所: MDV DPC hospital data  
\* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、\*\* 推計値

## 2 クービビック®\* : 新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)

DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している



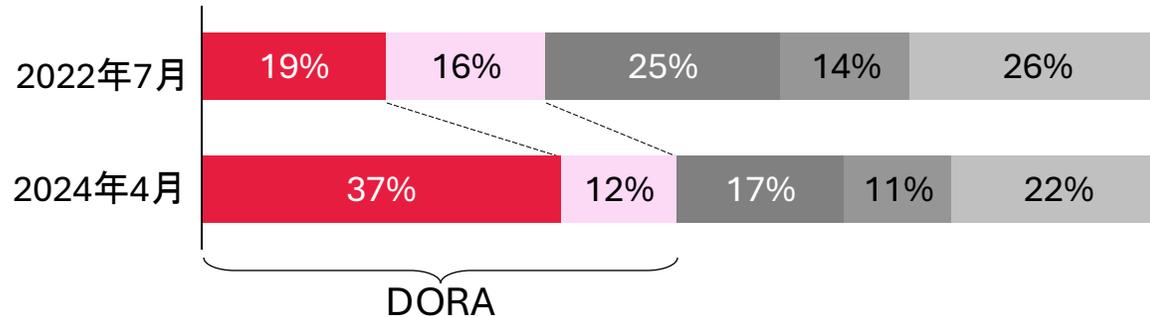
薬価ベース売上  
および市場シェア



✓ 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

## 2 クービビック®: APACへの拡大

APACへの市場拡大を推進し、製品の価値最大化を目指す



	提携先	市場規模 (不眠症患者数)	上市時期	提携内容
日本	SHIONOGI	>2,000万人	上市済み	流通・販売提携
韓国	韓国企業 (非公表)	650~1,100万人	2027	開発提携 (販売およびマーケティングは未 定)
上記以外の APAC諸国	複数の候補企業と 交渉中	-	-	-

# ピヴラッツ®およびクービビック®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

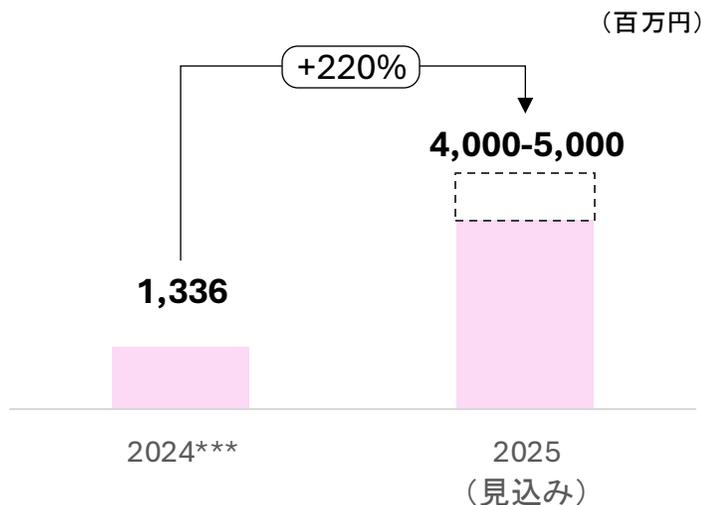
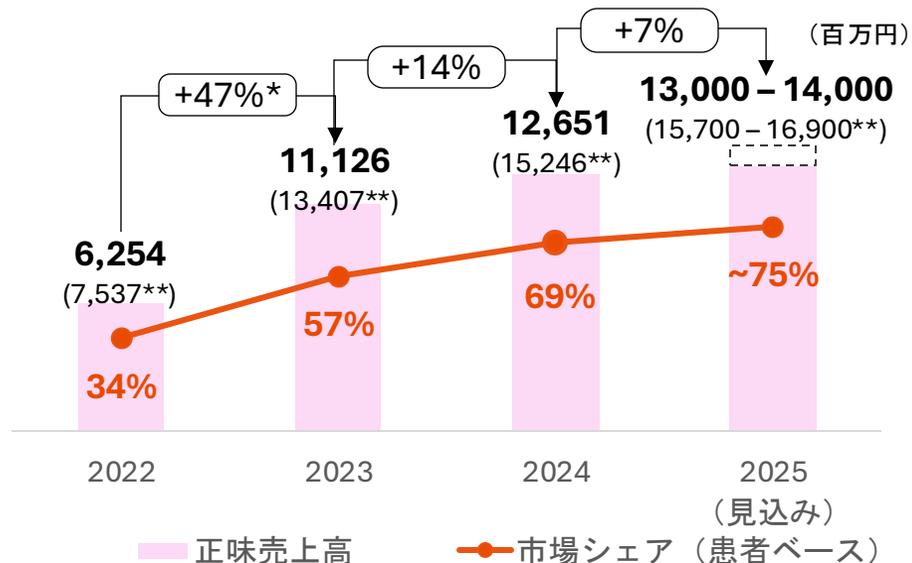
売上推移

**130～140億円**  
(薬価ベース：157～169億円)

+7%

**40～50億円**

+220%



出所: MDV DPC hospital data

\* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、\*\*薬価ベースの売り上げ \*\*\*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



# 研究開発の進捗

執行役副社長 Nxera Pharma UK 社長兼研究開発ヘッド  
マット・バーンズ

04

✔ 本日の説明対象

# 2024年の主要イベント

サイエンスとテクノロジーへの投資により画期的な医薬品開発を加速

## 創薬前

## 創薬

## 第 I 相

## 第 II 相



研究開発提携の対象を自己免疫疾患へ拡大

[PR LINK](#)

2024年5月



NxWave™プラットフォームを活用した神経疾患における複数のターゲットを対象とした創薬提携においてマイルストーン10百万ドルを受領

[PR LINK](#)

2024年6月



生成AIを活用した新規GPCRを標的とする抗体設計でAntiverse社と提携

[PR LINK](#)

2024年11月



NxWave™プラットフォームの積極活用により、2つの新規化合物が創薬段階に移行

2024年上期



GSK社からGPR35作動薬の権利再取得完了

[PR LINK](#)

2024年上期



✔ 選択性が高く、消化管で局所作用するIBD治療薬候補であるEP4 作動薬NXE'744のフェーズ1試験開始

[PR LINK](#)

2024年3月



✔ 統合失調症を対象としたファーストインクラスのGPR52作動薬に関する提携（一時金25百万ユーロ+オプション行使料60百万ユーロ）

[PR LINK](#)

2024年3月



✔ ナルコレプシー治療薬候補ORX750 (OX2R作動薬)のフェーズ1試験開始に伴い4.6百万ドルのマイルストーンを受領

[PR LINK](#)

2024年5月



✔ 認知症状に対する経口治療薬となることが期待されているムスカリン M1作動薬 (M1-preferring agonist) であるNBI-567のフェーズ1試験開始

[PR LINK](#)

2024年5月



✔ 選択的な経ロムスカリン M4作動薬のNBI-568の前臨床長期毒性試験の成功に伴い15百万ドルのマイルストーンを受領

[PR LINK](#)

2024年4月

✔ 統合失調症の成人を対象としたNBI-568のフェーズ2試験の良好な結果により35百万ドルのマイルストーンを受領

[PR LINK](#)

2024年9月



✔ Centessa社がナルコレプシー (NT1・NT2) および特発性過眠症を対象としたOX750のフェーズ2試験を開始

[PR LINK](#)

2024年11月

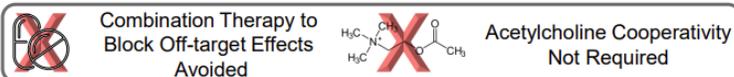
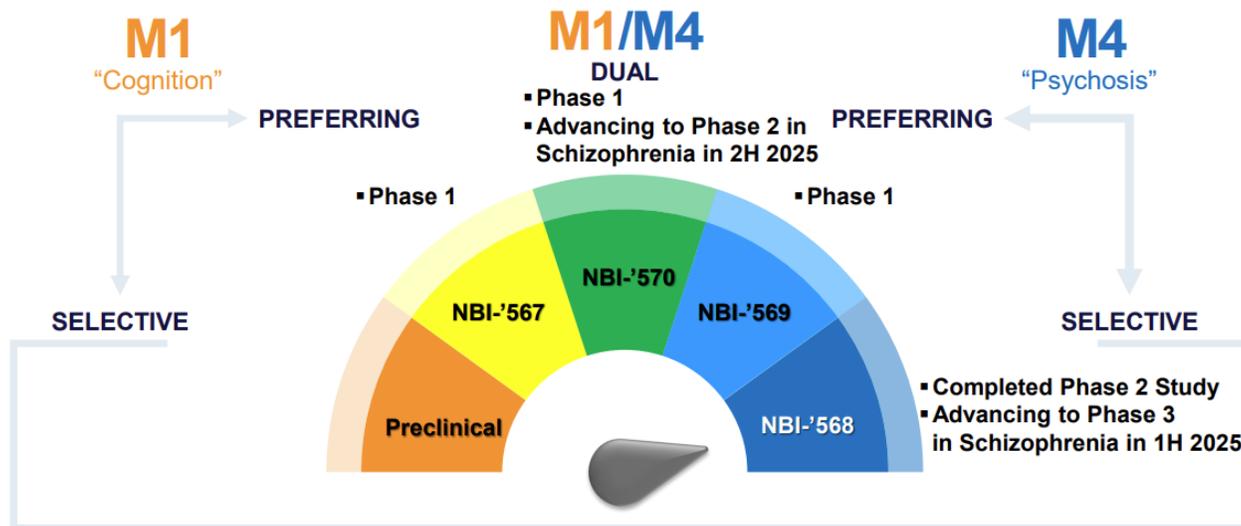
世界をリードするNxWave™創薬プラットフォームによりイノベーションを加速し、臨床試験でも成功を収めた

# 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



## Muscarinic Platform Includes Multiple Clinical Programs

From M1 to M4 Selective Orthosteric Agonists



22

## ハイライト

- NxWave™プラットフォームにより、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
- **NBI-568:** 最も開発が進んでいるM4選択的オルソステリック作動薬は2024年にフェーズ2試験を完了。2025年上期に統合失調症を対象としたフェーズ3試験を開始、下期には双極性障害を対象としたフェーズ2試験を開始予定
- **NBI-570:** M1/M4デュアル作動薬は、2025年後半に統合失調症を対象としたフェーズ2試験開始予定
- **NBI-567:** M1作動薬はフェーズ1試験が進行中であり、初期データは2025年中に発表予定

M1とM4をカバーし、複数のアプローチで認知症状および精神症状を治療していく

Centessa 社がナルコレプシー1型や  
 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のフェーズ2試験を実施中  
 - NxWave™を用いて創出



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フェーズ1試験を実施中  
 - NxWave™を用いてファイザー社が創出



**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

**ORX750**  
 Highly potent, selective OX2R agonist

**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**

\*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

Third Quarter 2024 Earnings

15

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の商業的ポテンシャルは大きい

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

## 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(フェーズ1b)

NXE-732(フェーズ1)

NXE-744(フェーズ1)

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

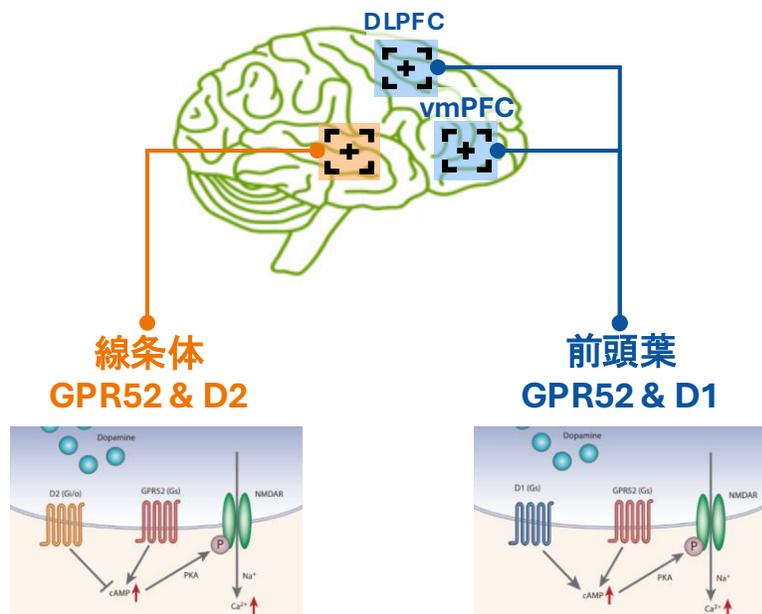
利便性・コスト効率が高く、製造が容易な経口低分子薬を設計し、主要疾患の治療に変革を起こしていく

# GPR52受容体作動薬 - 統合失調症

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

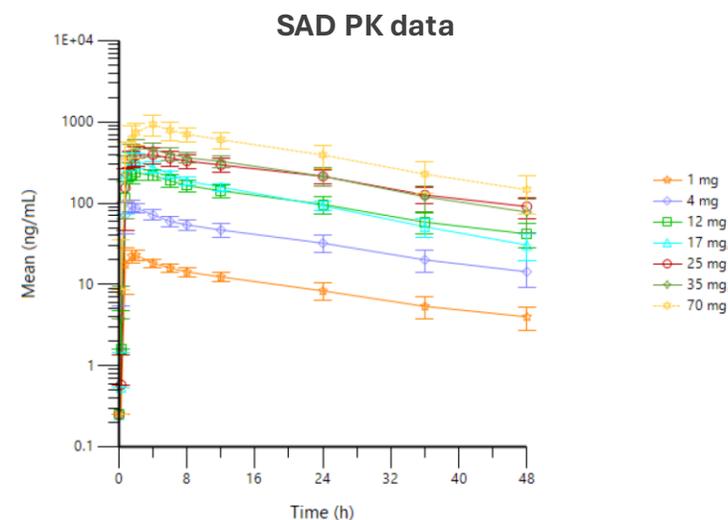
## 疾患メカニズムとの関連

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



## 進捗と今後の見込み

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



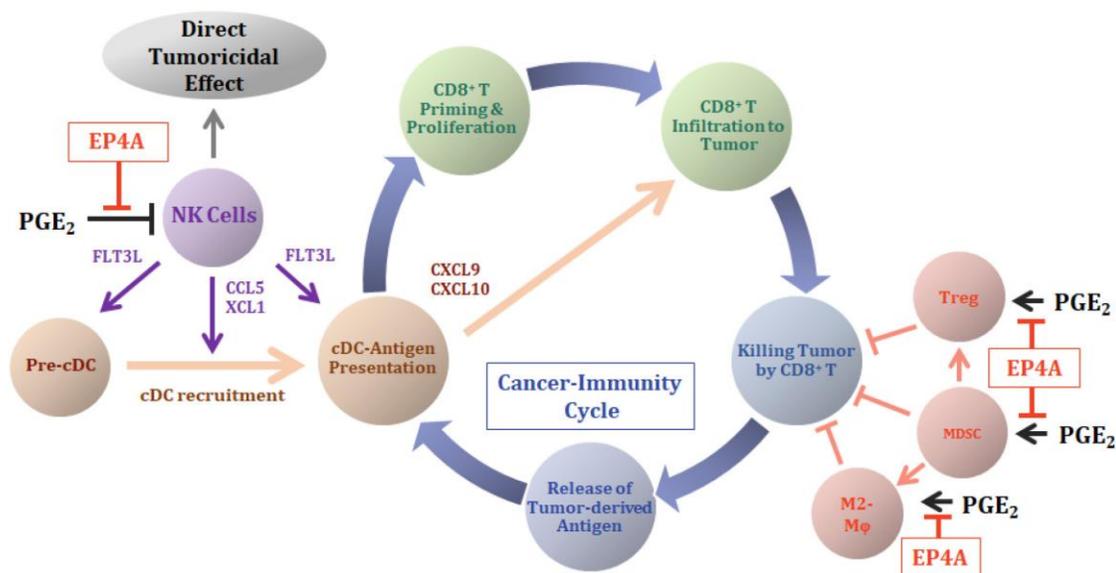
# EP4受容体拮抗薬 – 進行性固形がん

単剤もしくは免疫チェックポイント阻害剤(CPI)との併用で開発中



## 疾患メカニズムとの関連

- プロスタグランジンE2 (PGE<sub>2</sub>)は腫瘍とその周辺組織から分泌され、EP4受容体を介してシグナルを送り免疫系を抑制
- EP4受容体拮抗薬により免疫監視機能が回復し、CPIの効果を高めることが期待される
- CPIの奏効率は20%未満とされており、大きなアンメットニーズが存在



## 進捗と今後の見込み

- **フェーズ1試験は2025年第1四半期に完了予定**
  - 単剤療法の漸増試験(フェーズ1、パートA)は終了
  - 併用療法の漸増(フェーズ1、パートB)はまもなく完了予定
- **現在までのフェーズ1試験データは良好**
  - 有害事象は主に軽度(グレード1~2)であり、投与を中断することなく回復している
  - PKプロファイルは予測通りであり、すべての用量レベルにおいて一般的な用量比例性を示している
  - 試験した全用量レベルで標的への関与が確認され、T細胞浸潤のペア生検評価を含む追加薬力学的解析が進行中
- **フェーズ1試験のデータは2025年下半期に開示予定**
- **フェーズ2a試験は2025年第2四半期に開始の見込み**

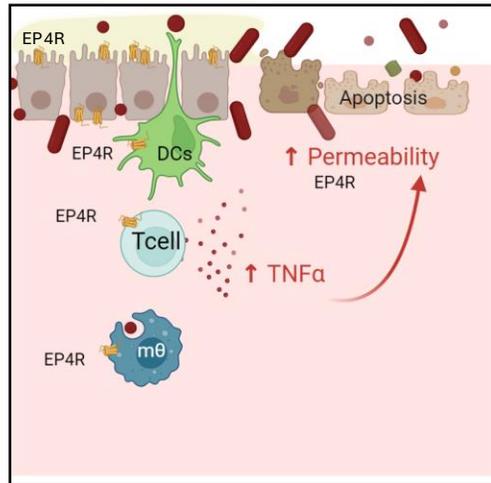
# EP4受容体作動薬 - 炎症性腸疾患 (IBD)

IBD患者の消化管内の粘膜治癒を促進するファーストインクラスの開発品

## 疾患メカニズムとの関連

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

バリア機能の改善 & 恒常性の回復により腸管透過性を低減



Created with BioRender.com

## 進捗と今後の見込み

### フェーズ1試験が進行中

- 健康人ボランティアに対する試験
- SAD/MAD試験は順調に進んでおり、MADにおける第5コホートまで完了
- 現在までに有害事象は報告されていない
- 現在試験中の追加コホートは、標的分子の疾患に対する関与を実証することに焦点を当てている。この試験は、フェーズ2試験の投与量の選択に有用なデータとなりえる

### フェーズ2試験に向けたデータを2025年下半期に取得予定

臨床試験詳細:

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

# 2025年の目標と将来のビジョン

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル

05



## 2025年の主な目標

01

製品関連の売上高170億円以上 (ピヴラッツ® + クービビック®)

02

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

03

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

04

効率性、拡張性のためのシステム、アプリケーションへの投資を継続

05

IFRS基準で営業黒字を達成 (GPR52作動薬のオプション行使時)

# 主なパイプライン (今後の見通し含む)

自社開発

提携



   : 独占的ライセンスオプション

   : 独占的オプション権

A : APAC\* での権利を保有

J : 日本での権利を保有

\* 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

# 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	P1 mGlu5 NAM 物質使用障害 P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー P2 M4 作動薬 統合失調症 P2 M4 作動薬 双極性障害 P1 M1/M4 作動薬 統合失調症	前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する睡眠障害 P1 M4 作動薬 P1 M1作動薬 認知機能障害、精神疾患 P1 GPR52 作動薬 統合失調症 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	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	市場規模 (2030年) 3,000億ドル以上	P1 CCR6 拮抗薬 炎症性腸疾患 P1 EP4 拮抗薬 + PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法 	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

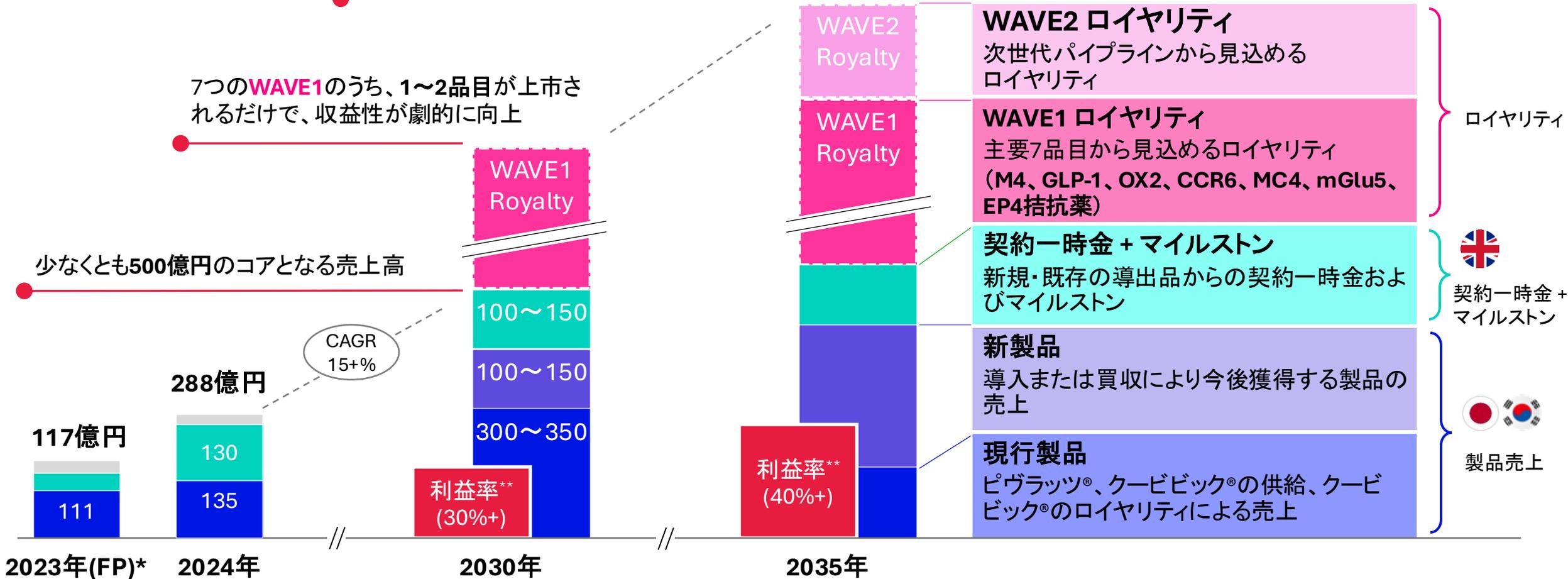
(億円)

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  
15+%



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



## 2025年に見込まれるイベント\*

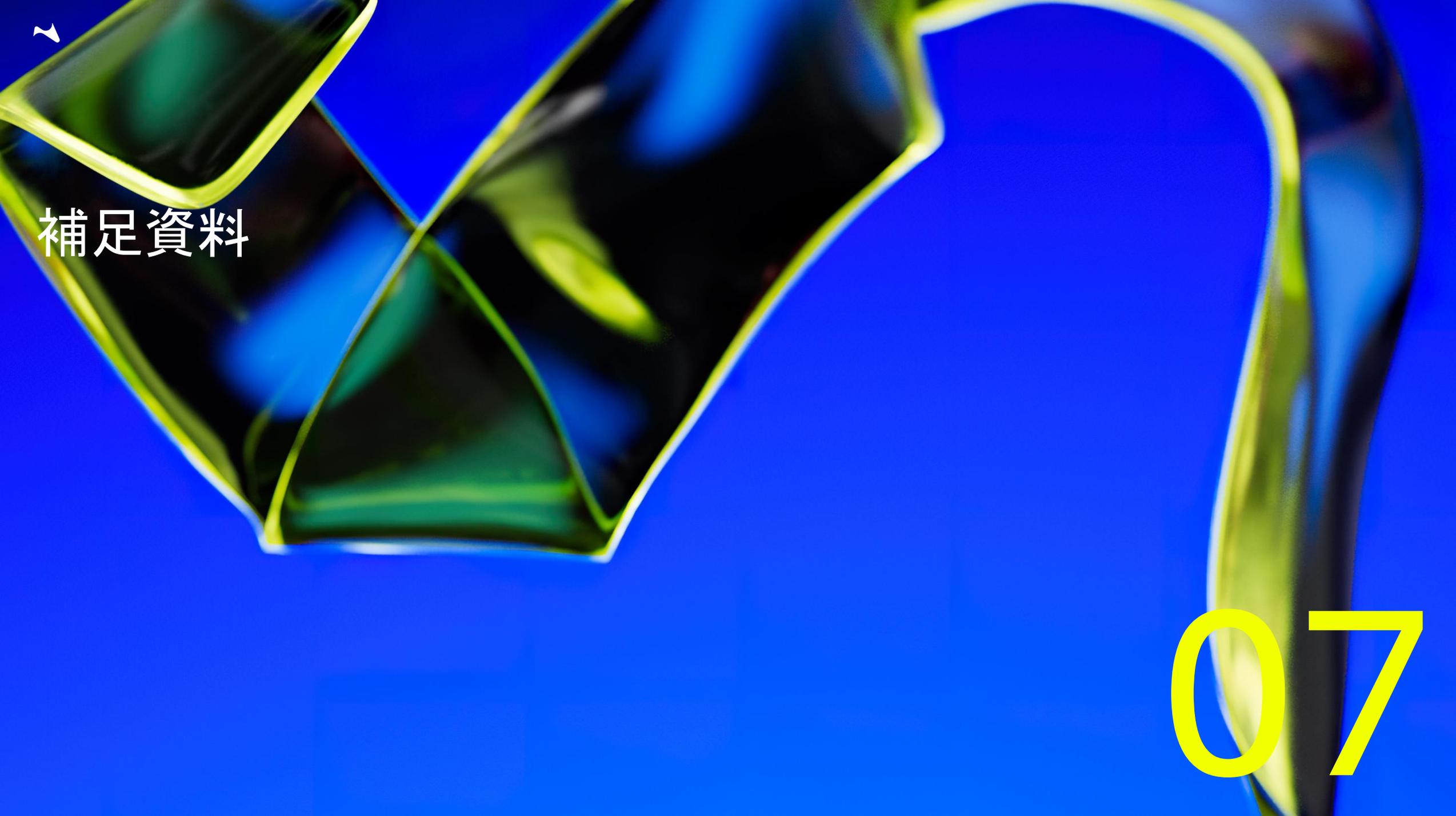
開発プログラム	提携先	時期	イベント
TMP-301 (mGlu5 NAM)		2025年上期	アルコール依存症を対象としたフェーズ2試験開始
Cenerimod (S1P1) / Lucerastat		2025年上期	オプション権行使の判断
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	2025年上期	進行性固形がんを対象としたフェーズ2a試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年上期	統合失調症を対象としたフェーズ3試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年下期	双極性障害を対象としたフェーズ2試験開始
NBI'570 (M1/M4作動薬)		2025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)
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
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



# Q&A

Thank you



補足資料

07

# NBI'568は2024年下期にフェーズ2試験で良好な結果を達成

統合失調症患者に対する1日1回20 mgの投与で、有効性および良好な安全性・忍容性を確認



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)

➤ PANSS合計スコアの変化幅	-18.2
➤ PANSS合計スコアの変化幅(プラセボとの差)	-7.5 (p = 0.011)
➤ 効果量	0.61
➤ Marder因子スコアの変化幅(プラセボとの差):	
• 陽性症状	-3.0 (p=0.004)
• 陰性症状	-1.9 (p=0.028)

主要評価項目および追加評価項目を達成し、**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**

すべての投与量において  
安全性・忍容性は概ね良好

➤ 投与中止率 (NBI-1117568投与群における有害事象由来のもの)	5.0% (プラセボ: 4.3%)
➤ 消化器(GI)・心血管(CV)の有害事象発生頻度 (Cobefy (BMS/Karuna): 対プラセボ比で3-5倍(GI)、~4倍(CV))	プラセボと同程度

NBI'568のすべての投与量で**安全性および忍容性が示された**

早急にフェーズ3試験  
を開始予定

➤ フェーズ2試験の良好な結果からマイルストーン受領	35百万ドル
➤ フェーズ3試験	2025年上期開始予定
➤ 双極性障害を対象としたフェーズ2試験	2025年下期開始予定
➤ ムスカリン作動薬ポートフォリオの <b>後続化合物を開発中</b>	

ムスカリン作動薬ポートフォリオの**可能性が拡大**

# 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6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	Cenerimod	S1P <sub>1</sub> 受容体モジュレーター	全身性エリテマトーデス	フェーズ3	APAC地域 (中国を除く) <sup>1</sup>
	Lucerastat	グルコシルセラミド合成酵素阻害薬	ファブリー病	フェーズ3	
優先交渉権 および 優先拒否権	ACT-1004-1239	ACKR3 / CXCR7 拮抗薬	多発性硬化症およびその他の脱髄疾患	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*	

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

\* グローバル臨床試験段階

# 「コア営業利益」の導入

コア営業利益 – 当社グループビジネスの実態により近い財務指標

営業利益

「コア」

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

+ 重要な **非現金** 支出費用

(有形固定資産償却費、無形資産償却費、株式報酬費用、減損損失など)

+ 重要な **一時的** 支出費用

(棚卸資産評価額、構造改革費用やその他の重要な一時的費用)

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

営業利益

「IFRS」

- 国際財務報告基準(IFRS)に準拠して記録・作成された業績

# 潜在市場規模

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

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

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

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



# 提携済パイプライン①

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
提携											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	 NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティプロ®	LAMA+LABA	低分子	COPD	 NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
エナジア®	LAMA+LABA+ICS	低分子	喘息	 NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
オラビ®	抗真菌薬ミコナゾール	低分子	口腔咽頭カンジダ症	 Hisamitsu	■	■	■	■	■	■	■
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	2型糖尿病	 Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	CGRP拮抗薬	低分子	神経疾患	 Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数の適応症	 Genentech A Member of the Roche Group	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	神経疾患	 abbvie	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	糖尿病・代謝性疾患	 Lilly	■	■	■	■	■	■	■

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



## 提携済パイプライン②

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
<b>共同開発</b>											
KY1051	抗CXCR4抗体	モノクローナル抗体	がん免疫		■						
(非開示)	AI創薬	低分子	神経疾患		■						
(非開示)	複数標的/バイオマーカーの探索	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患		■						
<b>共同出資</b>											
TMP-301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害		■	■	■				
ORX750	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー1/2型、IH		■	■	■	■			
ORX142	OX2作動薬(経口)	低分子	精神疾患の日中の過度の眠気		■	■	■				
ORX489	OX2作動薬(経口)	低分子	神経疾患		■						



# 自社開発パイプライン

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

1: パートナーがオプション権を保有



# 臨床試験

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）
NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph2	210	Yes	2022-10-04	2024-07-10	2024-09-27	<a href="#">NCT05545111</a>	-
NBI-1117569	M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
NBI-1117570	M1/M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	No	2024-03-11	2025-09-04	2024-10-30	<a href="#">2023-508814-40-00</a>	-
NBI-1117567	M1 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
PF-07054894	CCR6 拮抗薬	炎症性腸疾患	Ph1	27	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2024-10-08	<a href="#">NCT05549323</a>	<a href="#">NCT06327880</a> <a href="#">NCT04388878</a>
PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	14	No	2025-01-02	2025-02-11	2024-11-27	<a href="#">NCT06706869</a>	<a href="#">NCT04628793</a> <a href="#">NCT05113940</a>
PF-06954522	GLP-1 作動薬	2型糖尿病/肥満	Ph1	122	Yes	2024-02-20	2024-12-31	2024-09-19	<a href="#">NCT06279234</a>	<a href="#">NCT06393517</a> <a href="#">NCT06003777</a>
TMP-301	mGlu5 NAM	物質使用障害	Ph2	100	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2024-12-19	<a href="#">NCT06648655</a>	<a href="#">NCT06648668</a> <a href="#">NCT06025396</a> <a href="#">NCT03785054</a>
ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	78	Yes	2024-12-23	2025-12	2024-12-31	<a href="#">NCT06752668</a>	-
NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	最大104	No	2023-02-20	2024-11-29	2024-04-18	<a href="#">ISRCTN17231793</a>	-
NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1 Ph2	150	Yes	2023-07-13	2026-09	2024-12-02	<a href="#">NCT05944237</a>	-
NXE0033744	EP4 作動薬	炎症性腸疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-

\* 主要評価項目完了日(見込)

## 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(実績)

	2024年	2023年	2022年
USD:JPY	151.43	140.53	131.30
GRP:JPY	193.49	174.81	161.76

### 費用見積もりに用いた予想為替レート

	2025年	2024年	2023年
USD:JPY	152	140	143
GRP:JPY	193	172	166

### 無形資産

(百万円)

	Dec 31, 2024	Dec 31, 2023	Dec 31, 2022
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



# 用語集

## 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事が知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
NxSta™	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

# 主要拠点



Midtown East,  
9-7-2 Akasaka  
Minato-ku  
Tokyo 107-0052

Japan



F17, 410 Teheran-  
Ro  
GangHam-Gu  
Seoul 06192

South Korea



Steinmetz Building  
Granta Park,  
Cambridge  
CB21 6DG

United Kingdom



Spaces Grosspeter  
Tower,  
Grosspeteranlage  
29,  
4052 Basel

Switzerland