

Nxera Pharma

ファブリー病治療薬候補Lucerastatの導入について

2026年10月28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。



Lucerastat: グローバル・フェーズ3試験中の経口ファブリー病治療薬

グローバルでの承認申請は早ければ2029年、日本での上市は2030年代前半を予定



主な契約条件

Ph3段階の導入品 Lucerastat: 経口グルコシルセラミド合成酵素（GCS）阻害薬

対象地域	日本、韓国、台湾、およびAPACの一部市場*（中国を除く）における独占的権利
契約一時金	700万スイスフラン（約850万米ドル／13億円） NxeraがIdorsiaの日本・韓国事業を買収した際に事前に合意
開発	ネクセラはグローバルPh3試験の費用を一部負担し、 日本での臨床開発を主導
ロイヤリティ	Nxeraの販売地域における純売上高に応じてIdorsiaにロイヤリティを支払う

戦略的意義

- ✓ 当社がフォーカスしているスペシャリティケア領域の希少疾患
- ✓ 開発後期段階でリスク低減が図られており、6年以上にわたり累計400名相当（人数×年）のデータを蓄積
- ✓ 米国およびEUで希少疾病用医薬品に指定された、差別化された経口薬
- ✓ 契約一時金を抑え、Ph3費用の一部を負担：日本もグローバル開発に参画
- ✓ 日本における4品目目：PIVLAZ®、QUVIVIQ®、AGAMREE®に続く

150億円超 日本における売上高ポテンシャル（1億米ドル超）

韓国、台湾およびその他APAC市場でのさらなる成長余地

日本の希少疾患患者さまに最も革新的な新薬を届けることに今後も尽力する

Lucerastatは開発中でありいずれの国でも未承認。CHF/USD：1.2155（2026年10月23日）。
ピーク時の売上高見込みは経営陣による推定値であり、Ph3試験の結果および承認の可否によって変動する可能性がある。円換算レート：1米ドル＝157円。

*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、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナム



ファブリー病: 日本の診断済み患者の約半数は未治療

酵素補充療法からの切替に加え、経口薬の利便性を活かした未治療患者への普及にも期待



ファブリー病

- ・ **遺伝性疾患:** 遺伝子に異常があり、脂肪性物質 **Gb3** を分解する酵素 **α-Gal A** が不足
- ・ **Gb3が蓄積:** 腎臓、心臓、神経系に進行性の損傷を与える

診断を受けた患者様(主要7市場)

16,000 → 21,000

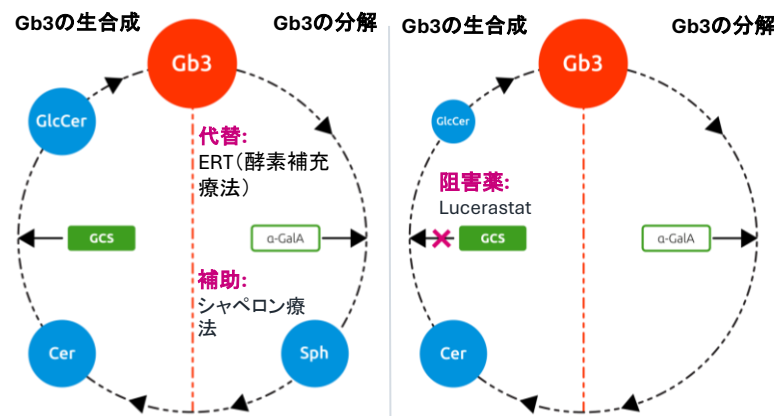
2020年から2034年

世界のファブリー病市場

40億米ドル

2034年予測

治療の選択肢



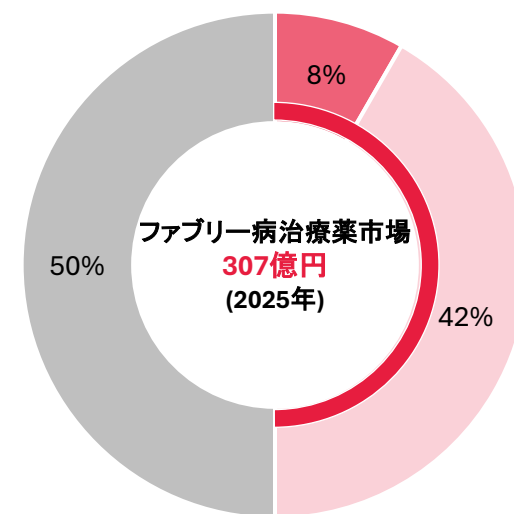
現在の治療法

- ・ α-Gal Aを一時的に代替または補完する
- ・ 2週間ごとに点滴投与が必要。または特定の変異型に対しGalafold(migalastat)の錠剤を服用

LUCERASTAT

- ・ 上流で作用し、酵素GCSを阻害
- ・ 変異の種類にかかわらず、体内で産生されるGb3が減少

日本における治療状況



- Galafold (migalastat)
- 酵素補充療法
- 未治療 (診断済)

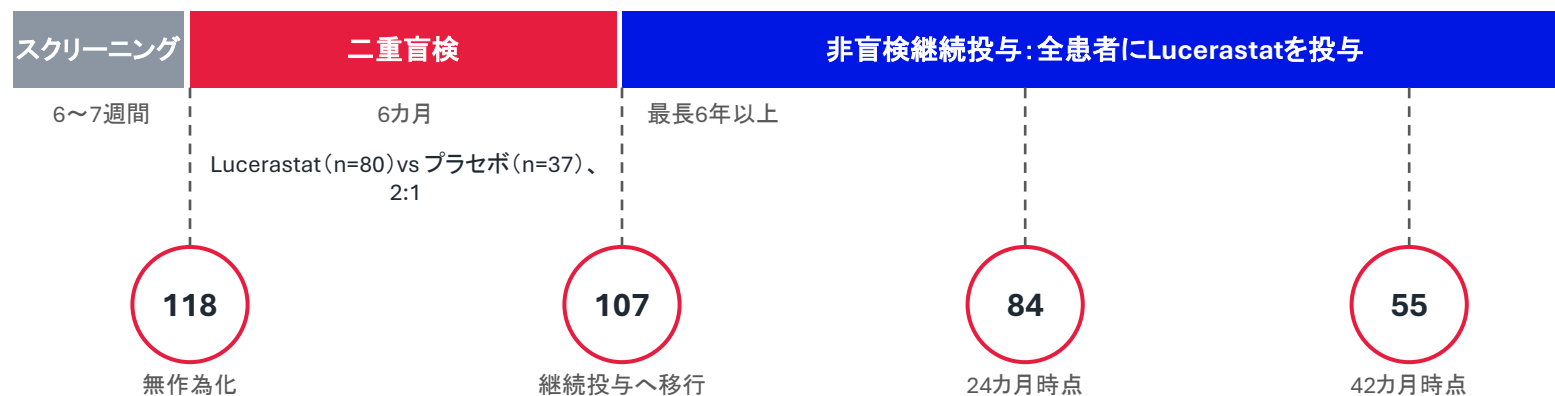
あらゆる遺伝子型に対応する経口治療薬により、未治療の患者様や点滴投与の中止を希望する患者様への治療機会を広げる

Lucerastatの6年間の臨床データ

過去の無作為化フェーズ3試験と継続投与試験: Gb3を低下させ、長期にわたり良好な忍容性を確認



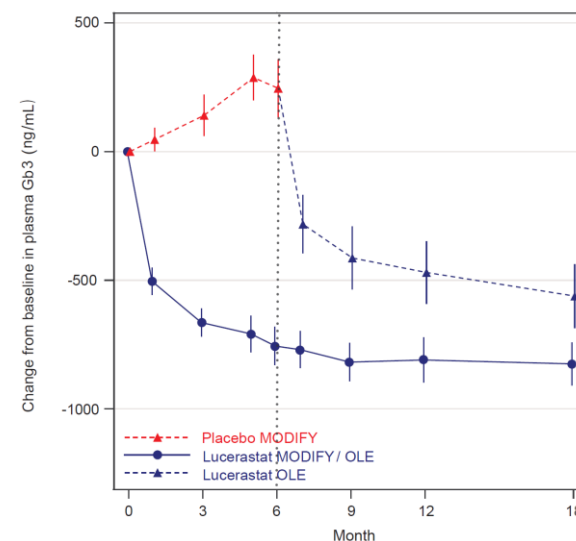
MODIFY試験: 無作為化フェーズ3試験から非盲検継続投与試験へ



Gb3低下: 6カ月時点で血漿中Gb3がプラセボ比874 ng/mL低下。プラセボ群も切替後に低下し、長期投与では約51%低下

率直な評価: 主要評価項目(6カ月時点の神経障害性疼痛)は未達。ファブリー病では疼痛での評価が難しく、承認申請に向けた開発は腎臓を軸に構築

血漿中Gb3: Lucerastat vs プラセボ



Number of participants
Lucerastat MODIFY 80
Placebo MODIFY 37
71
34
70
32
67
27
60
26
59
23

血漿中Gb3のベースラインからの変化量(ng/mL)。Nordbeck P et al., Nat Commun 2026

399 人×年の投与実績

48カ月 投与期間の中央値

15% 副作用による投与中止

なし 想定外の重篤な有害事象

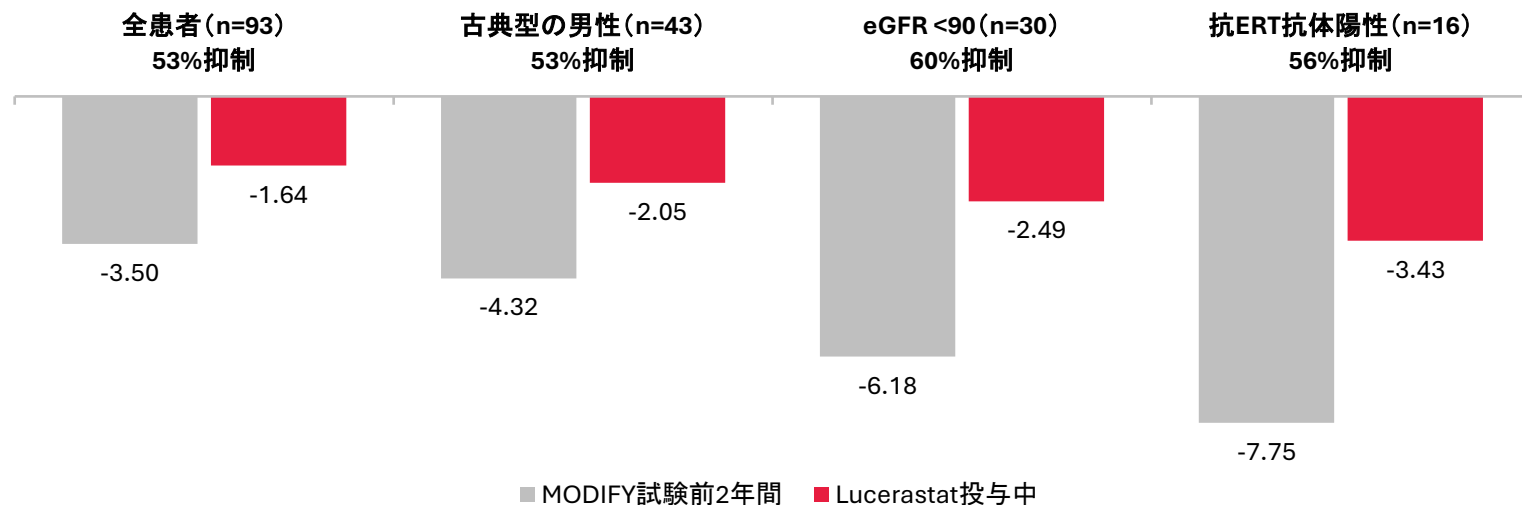
Lucerastatはファブリー病の原因物質であるGb3を低下させ、6年間の安全性データを蓄積

Lucerastatの腎機能改善効果と承認申請スケジュール

長期データでは腎機能低下が約半分に抑制



腎機能(eGFR)の低下:MODIFY試験前2年間 vs Lucerastat投与中



腎生検サブスタディ

古典型ファブリー病の男性6例、Lucerastat投与期間中央値56カ月:

- ・ 腎臓のGb3沈着は低値～なし。
- ・ 6例中5例が「なし／微量」と評価

eGFRスロープ (mL/min/1.73m²/年)。42カ月時点の非盲検継続投与試験と各患者の投与前スロープを比較。

FDAと合意した承認申請プログラム

FAB-KLEAR ピボタル生検試験、n≈16:18カ月時点の腎Gb3を評価。2026年10月開始

→ **FAB-SWITCH** n≈74:酵素補充療法(ERT)との腎機能比較

→ **申請** 早ければ2029年(Idorsia社、米国・欧州)

→ **日本** 当社が開発を主導、2030年代前半の上市を目指す

フェーズ3で腎臓データが確認されれば、Lucerastatは全てのファブリー病患者に向けた初の経口治療薬となる可能性

主要拠点



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

Japan



F17, 410 Teheran-
Ro
GangNam-Gu
Seoul 06192

South Korea



Steinmetz Building
Granta Park,
Cambridge
CB21 6DG

United Kingdom



Burleigh-on-the-Strand
355-359 Strand
London
WC2R 0HS

United Kingdom



Office 26.01
Flexoffice Messeturm
26th Floor
Messeplatz 10
CH-4058 Basel

Switzerland