NON-CONFIDENTIAL

Nxera Pharma

2026年12月期 3Q決算 & R&D説明会

2026年10月30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、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。

目次

01 ビジネスハイライト

02 連結業績

03 日本/APAC事業

04 研究開発の進捗

05 今後の展望

06 Q&A

ビジネスハイライト

CEO クリストファー・カーギル

01

日本で利益を創出し、英国で創薬を推進、提携先と成長

26/12期3Q：本日お伝えしたい3つのメッセージと今後の成長に向けた道筋

1 黒字化と成長を実現

売上収益（第3四半期累計）

277億円（前年同期比＋27%）

コア営業利益（第3四半期累計）

98億円（通期予想比＋126%）

日本のコマーシャル事業が成長を牽引

71億円

✓ **Lucerastat**を導入：日本向けの4品目目を取得

2 提携先から高く評価される創薬

提携先関連収益（第3四半期累計）	**133億円**（前年同期比+63%）
提携先で開発中の化合物	**7品目が臨床試験段階** うち2品目がPh3
提携契約の総額	**45億米ドル** ＋ロイヤルティ

3 2030年ビジョンに向けて順調に進捗

一体的なビジネスモデル

日本事業の利益 → 英国での創薬投資

提携先企業 → グローバル開発資金を負担

2030年の目標

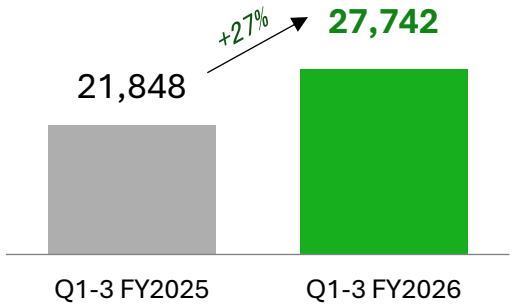
売上収益	**500億円超**
営業利益率	**30%超**
日本での製品数	**5品目超**

足元で黒字化を実現するとともに、2030年に向けて事業全体での価値創出を推進

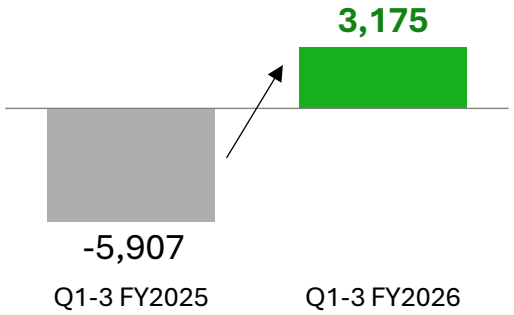
2026年12月期第3四半期累計：売上収益は27%増、両事業で黒字化を達成

連結業績

売上収益（百万円）



営業利益（百万円）



コア営業利益は-986百万円から
9,818百万円へ増加

コマーシャル事業

PIVLAZ® 売上高

99億円

（前年同期比＋10.2%）

QUVIVIQ® 売上高

45億円

（前年同期比＋43.2%）

✓ **VAMOROLONE**
韓国で販売承認申請を実施

Lucerastatを導入

プラットフォーム事業

✓：Q3に完了

✓ 収益につながる複数のマイルストンを達成

NEUROCRINE® BIOSCIENCES **$22.5M** **$10.0M** ✓　abbvie **$20M**

CENTESSA PHARMACEUTICALS **$1.8M** **$3.0M** **$8.6M** ✓　Lilly **Undisc.**

✓ Eli Lilly社がCentessa社のオレキシン作動薬ポートフォリオを取得

Lilly X CENTESSA PHARMACEUTICALS **Up to $7.8B***

✓ GPCR標的プログラムを開発する新会社を設立（1H）

$275M GPCRプログラム：潜在的マイルストン＋段階的ロイヤルティ＋株式持分

提携プログラムの進展とLilly社によるCentessa社の買収により、NxWave®由来アセットの価値がさらに顕在化

*Lilly社によるCentessa社の買収額。ネクセラは同社のオレキシンポートフォリオ全体について、全世界を対象にマイルストンおよびロイヤルティを受領する権利を有する。

2026年の目標

01	製品関連の売上高195億円以上 （ピヴラッツ® + クービビック®）	144億円 進捗率: 74%	✓	Commercial
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を取得	**Lucerastat を導入**	✓	Commercial
03	1つ以上の価値の高い提携契約を締結	進行中	✓	Platform
04	パートナー企業によるフェーズ2試験を 1つ以上開始	**NBI-’570 NBI-’567 ORX142**	✓	Platform
05	総コストを10%以上削減し、 IFRSベースでの通期黒字化を達成	3Q累計で 黒字化	✓	Corporate

連結業績

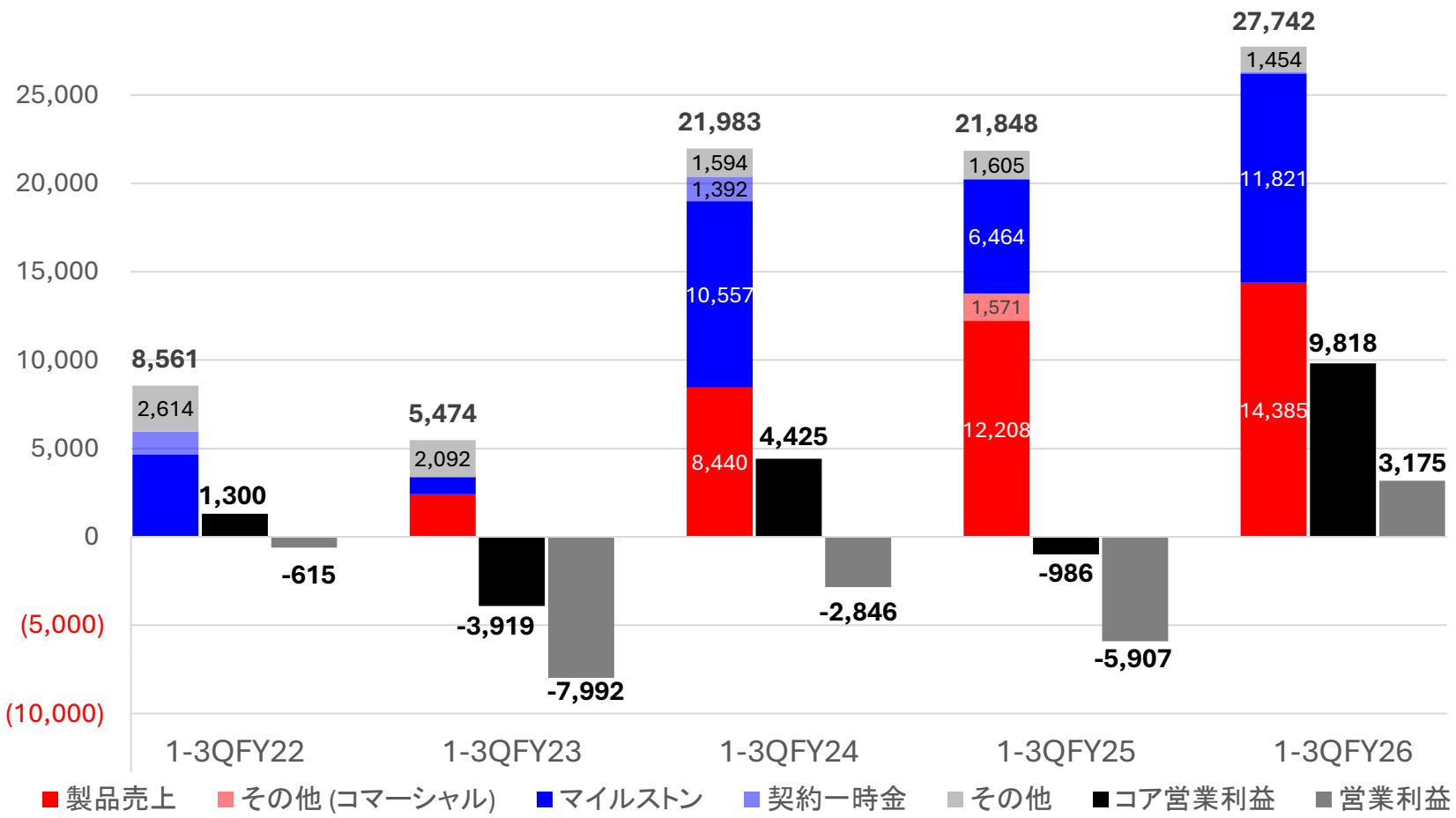
CFO 野村 広之進

02

主要決算数値（2026年12月期1-3Q）

売上収益は前年同期比27%増の277億円、コア営業利益/営業利益のいずれも黒字化を達成

（百万円）



26年1-3Qの進捗

Platform

- ニューロクライン社、センテッサ社、リリー社、アッヴィ社等から複数のマイルストン受領
- M1/M4作動薬NBI-570のP2試験開始（22.5百万米ドル受領）およびM1作動薬NBI-567のP2試験に関するIND受理（10.0百万米ドル受領）

Commercial

- Pivlaz®:（前年比10%増）
- Quviviq®:（前年比43%増）

Cost / Profit

- 効率的な投資および資本配分により、研究開発費は減少
  （通期予想に対する進捗率：75%）
- 販管費は期初予想に沿って進捗
  （同：73%）

1-3Q決算のブレークダウン（2026年12月期）

両事業で黒字化を達成：コア営業利益はコマーシャル事業で71億円、プラットフォーム事業で27億円

（百万円）	プラットフォーム*1	（対前年同期比）	コマーシャル*2	（対前年同期比）	連結損益（コア）	（対前年同期比）	ノンコア費用	連結損益（IFRS）	（対前年同期比）
売上収益	13,326	+63%	14,416	+5%	27,742	+27%	合計：6,643	27,742	+27%
売上原価	498	-70%	3,743	-16%	4,241	-30%	Ⓐ 償却費(1,341)	4,269	-31%
販管費	4,221	+6%	2,711	-29%	6,932	-11%	Ⓑ その他(2,079)	10,325	-10%
研究開発費	7,093	-20%	835	-22%	7,928	-20%	Ⓑ その他(1,035)	8,963	-20%
その他収益	1,171	+165	6	+11	1,177	+176	(2,188)	(1,010)	-2,011
営業損益	2,685	+8,052	7,133	+2,752	コア営業利益 9,818	+10,804		営業利益 3,175	+9,082

Ⓐ 主にピヴラッツとクービビックの無形資産の償却

Ⓑ 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、及びその他事業再編費用

*1 = ネクセラファーマ株式会社（旧そーせいグループ株式会社）+ Nxera Pharma UK Ltd（旧Heptares Therapeutics Ltd.）、但し、ネクセラファーマ株式会社のスイス支社を除く
*2 = ネクセラファーマジャパン株式会社 + Nxera Pharma Korea + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社

1-3Q決算のブレークダウン（2026年12月期）

通期予想に対し、売上・コスト管理共に予想通りの進捗

（百万円）	プラットフォーム*1	（対進捗率）	コマーシャル*2	（対進捗率）	連結損益（コア）	（対進捗率）	ノンコア費用	連結損益（IFRS）	（対進捗率）
売上収益	13,326	93%	14,416	74%	27,742	82%	合計：6,643	27,742	82%
売上原価	498	36%	3,743	66%	4,241	60%	A 償却費(1,341)	4,269	59%
販管費	4,221	74%	2,711	73%	6,932	74%	B その他(2,079)	10,325	73%
研究開発費	7,093	88%	835	35%	7,928	76%	B その他(1,035)	8,963	75%
その他収益	1,171	117%	6	-	1,177	118%	(2,188)	(1,010)	-
営業損益	2,685	2,685%	7,133	93%	コア営業利益 9,818	126%		営業利益 3,175	454%

A 主にピヴラッツとクービビックの無形資産の償却

B その他の無形資産（知財等）の償却、有形固定資産（実験設備等）の償却、株式報酬費用、及びその他事業再編費用

*1 = ネクセラファーマ株式会社（旧そーせいグループ株式会社）+ Nxera Pharma UK Ltd（旧Heptares Therapeutics Ltd.）、但し、ネクセラファーマ株式会社のスイス支社を除く
*2 = ネクセラファーマジャパン株式会社 + Nxera Pharma Korea + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社

日本/APAC事業

COO兼ネクセラファーマジャパン社長　前田 敏宏

03

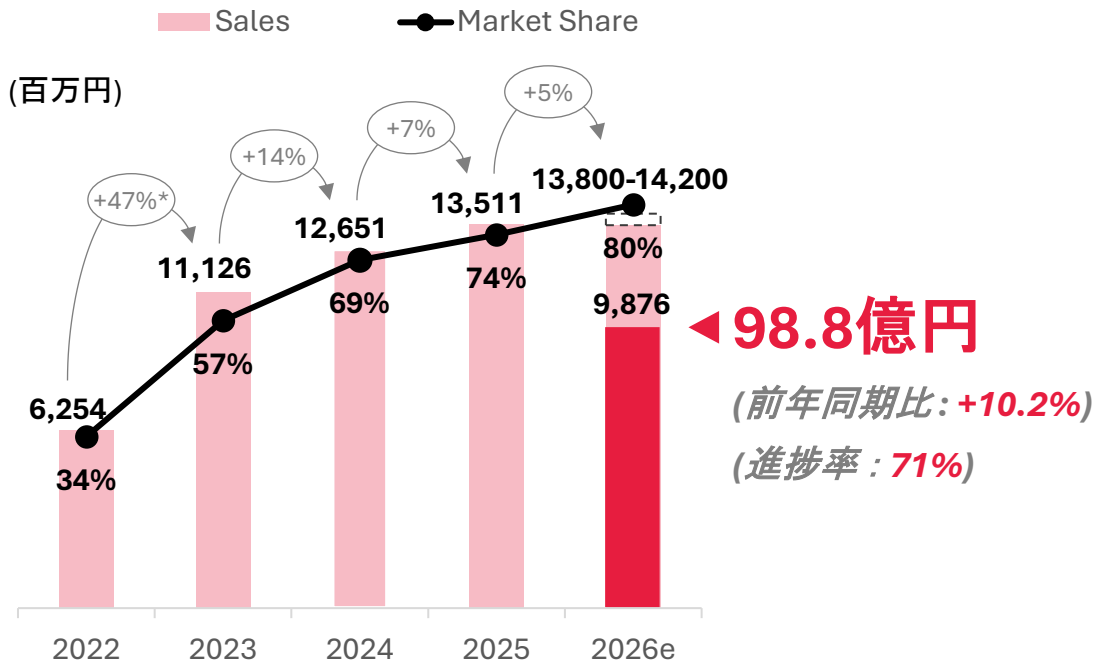
国内製品売上高は3Q累計で144億円：ピヴラッツ®は10%増、クービビック®は43%増

Commercial

ピークセールス予想売上高：ピヴラッツ® 150–160億円、クービビック®150–200億円

ピヴラッツ®

エンドセリン受容体拮抗薬 ピヴラッツ® 点滴静注液 150mg



◀98.8億円

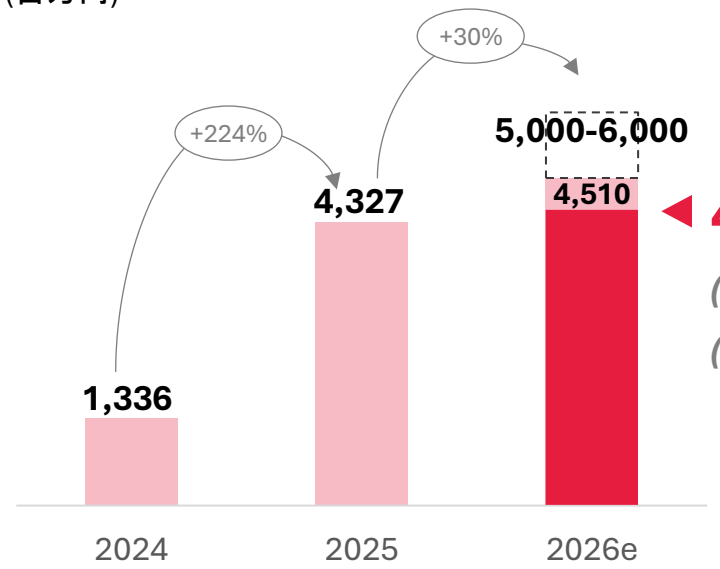
(前年同期比：+10.2%)

(進捗率：71%)

「クラゾセンタン投与法の実践的手引き」が2026年3月にリリース

クービビック®

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



◀45.1億円

(前年同期比：+43.2%)

(進捗率：82%)

塩野義製薬が2026年度の売上予想を67億円→89億円に上方修正
APAC8か国について2026年10月にSynmosa社にライセンス

AGAMREE® (vamorolone):日本では2027年に承認申請、2028年に上市予定

ピーク予想売上高:100-200億円、日本及び韓国において追加の臨床試験を行うことなく開発を推進

1月導入

Commercial

薬剤の概要

- Vamoroloneは、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対する従来のコルチコステロイドとは異なる作用機序を示す**ファースト・イン・クラス**薬剤候補
- GUARDIAN臨床試験のトップライン結果で、従来のコルチコステロイドと比較し、**安全性の大幅な改善**が示唆
- 大規模病院で処方され、施設ベースでピヴラッツ®と**約70%の販売シナジー**
- 長期的なステロイド治療を必要とする他の疾患への適応拡大も検討中(**福山型先天性筋ジストロフィー、ネフローゼ症候群**など)

開発タイムライン(適応:DMD)

- **日本・韓国の規制当局との協議により、追加の臨床試験が不要であることを確認**

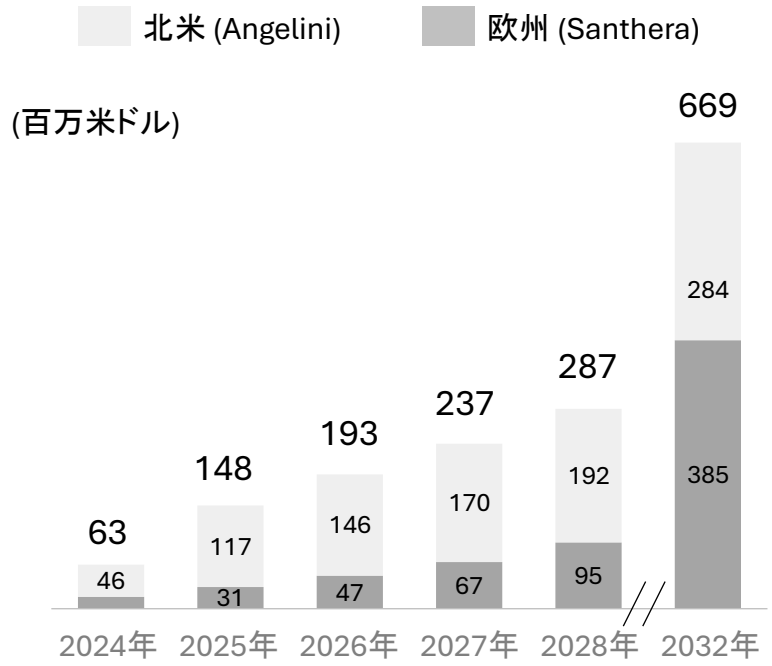
	承認申請	承認・上市
日本	2027年(予)	2028年(予)
韓国	2026年 ✓	2028年(予)

オーストラリア/ニュージーランド(権利を保有)提携を通じた上市を予定

承認済
(DMD適応)

2028年以降の売上高への貢献を期待

欧米での売上高予想



出典:Evaluate Pharma 提携先の売上高であり、当社の売上収益ではありません。

欧米の売上高予想は2032年に1,000億円超

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

Commercial

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

- P 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
- P **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
- P 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
- P **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
- P **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

Commercial

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

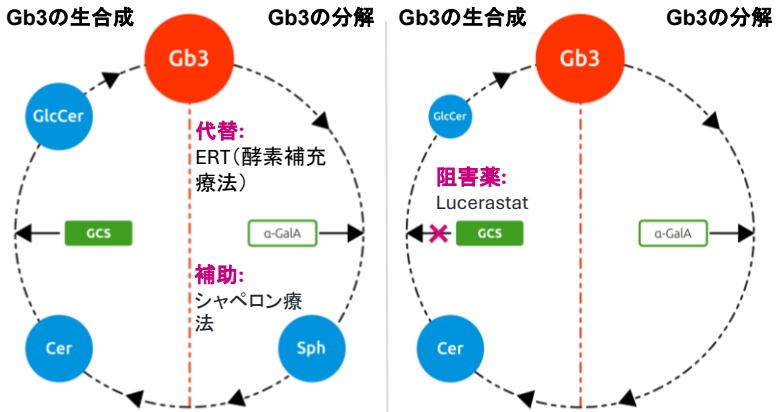
2020年から2034年

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



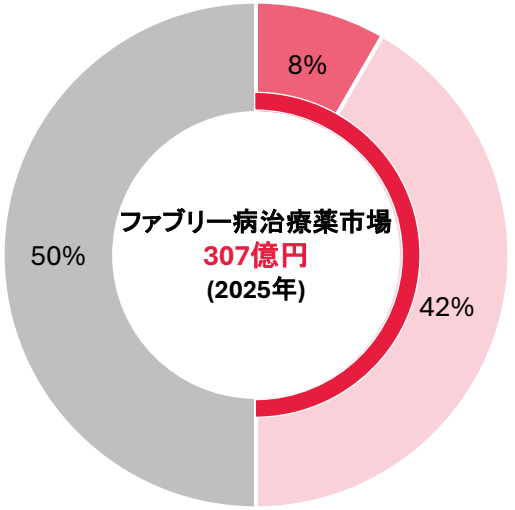
現在の治療法

- 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

出所：Idorsia Corporate Presentation、DelveInsight(主要7市場)、Nxera推計(日本の市場および治療構成)。
GCS：グルコシルセラミド合成酵素。ERT：酵素補充療法。

研究開発の進捗

CSO パトリック・フォルシュ



04

Platform

英国発の創薬成果

提携先で7つの開発品が臨床段階、うち2つがP3試験段階

提携先	NxWave®由来のプログラム	契約総額	2026年マイルストン	次のカタリスト
NEUROCRINE® BIOSCIENCES	**ムスカリン受容体作動薬** Phase 3: Direclidine（統合失調症） Phase 2: Direclidine（双極性障害の躁症状） Phase 2: NBI-570（統合失調症） Phase 2: NBI-567（アルツハイマー病の認知機能障害） Phase 1: NBI-569（アルツハイマー病の精神病症状）	**26億米ドル ＋段階的ロイヤリティ**	3,250万米ドル	Direclidine P3試験結果 （2027年2H）
Lilly / CENTESSA PHARMACEUTICALS	**オレキシン2受容体作動薬** Phase 2/3: Cleminorexton（ナルコレプシー・IH） Phase 2: ORX142（神経疾患） Phase 1: ORX489（精神神経疾患）	**マイルストン ＋1桁台前半の ロイヤリティ**	1,700万米ドル	Cleminorexton P2/3試験結果 （2027年）
abbvie	マルチターゲット提携 創薬段階：神経科学領域	**12億米ドル ＋段階的ロイヤリティ**	2,000万米ドル	開発マイルストン
Lilly	マルチターゲット提携 創薬段階：糖尿病・代謝性疾患	**7億米ドル ＋段階的ロイヤリティ**	非開示	開発マイルストン

7 臨床段階の提携開発品のうち2つがP3試験

提携収益（2026年度1～9月）
133億円

**創薬プラットフォーム事業
コア営業利益（2026年度1～9月）**
27億円

当社の創薬成果を収益へとつなげ、足元ではマイルストン収入、将来的には医薬品の上市に伴うロイヤリティ収入を獲得

Nxera

Platform

オレキシン2受容体作動薬

有効性が実証された領域でEli Lillyが開発を推進、当社は3品目すべてで将来的な収益を得る権利を保有

開発が進む3化合物

ORX750 (cleminorexton)
ナルコレプシー1型・2型、
特発性過眠症
Phase 2/3

ORX142
神経疾患・神経変性疾患
Phase 2

ORX489
精神神経疾患
Phase 1

当社の収益機会:
全ポートフォリオの
グローバル権利に対し、
マイルストンと1桁台前半の
ロイヤリティを受領可能

Eli Lillyのコミットメント

- **Centessaを約63億米ドルで買収**。1型ナルコレプシー以外の承認に連動し、最大15億米ドルの追加対価を支払う可能性
- Centessaが予測していた**2040年の医薬品売上高は64億米ドル**（Eli Lillyによる買収前）
- Eli Lillyは、オレキシンを**神経科学領域**において最も有望な作用機序の一つと評価[1]
- オレキシンは睡眠・覚醒サイクルを制御する中心的な役割を担っており、**睡眠障害にとどまらず**、ADHDやその他の神経変性疾患・精神神経疾患への**適応拡大にも大きな可能性**

創薬標的としての有望性が実証されたオレキシン領域において、Eli Lillyの豊富な経営資源を活用し開発が推進
当社は全3化合物に将来的な収益（マイルストン・ロイヤリティ）を得る権利を保有

1: Carole Ho, President, Lilly Neuroscience; Lilly press release, March 31, 2026

Platform

継続的な創薬成果を生み出す強み

他社にはない蓄積されたGPCRデータと、従来の2倍の創薬スピード

GPCRは現在も医薬品開発において最も成功している創薬標的の一つであり、
承認済み医薬品の**約3分の1**を占める

当社は過去20年間で、
527件のGPCR構造を解析

他社にはない独自データ

527 62種類の受容体に関するGPCR構造データ

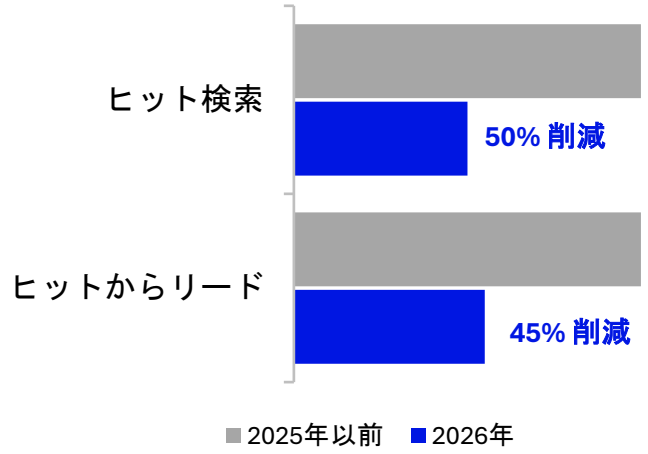
3万 受容体の安定化に関する変異データ

500万 15万化合物の試験結果

3.1万 自社ラボで蓄積した合成経路データ

実測で確認した創薬スピードの向上

初期創薬の所要期間（実測、月）



69
2026年に新規取得した受容体構造（前年比**50%増**）

11
ポートフォリオ全体における次段階への開発移行件数（9カ月間）

計算資源とAIモデルは誰でも利用できるが、当社独自のGPCRデータは競争優位性を生み出す

ヒット探索：最初の活性化合物を探索する段階
ヒットからリード：有望な化合物群へと展開する段階

Platform

NxAQ®

当社独自のデータを基盤にAIが提案、物理学的手法で検証し、研究者が判断

ネクセラ独自のデータ

GPCR構造 527件
安定化変異 30,000件
試験結果 500万件
合成経路 3万1,000件

約20年にわたる知見

1 データパッケージ構築

標的毎に豊富なデータセットを整備し、活用可能な状態を構築

2 AIによる設計・評価

独自のGPCRデータにより最適化したAIモデルが大規模な仮想スクリーニングを実施
各候補化合物について設計根拠・合成経路を示し、評価・順位付け

3 物理学的手法で検証

量子力学などの物理学的手法で候補化合物を検証、優先順位の高い候補を絞り込む

4 研究者が判断

科学的根拠を確認し、合成する化合物を決定

5 合成・評価

ケンブリッジのNxWaveラボで化合物の合成・評価・構造解析を実施

学習記録：予測・結果・判断のすべてを次の設計サイクルに反映

データ取得の迅速化

候補化合物の選択精度向上

今後のマイルストン

2026年下期
最初のデータパッケージの運用を開始、蓄積データを活用した創薬ワークフロー稼働

2027年上期
AI設計分子のラボ評価を実施

2027年下期
本プラットフォームから最初のリード化合物シリーズ創出

自社のGPCRデータを起点に、すべての研究成果を学習・蓄積し、継続的に進化する創薬サイクルを構築

NxAQ® ：Nxera Pharma AQ Limited。2026年8月に示した開発候補品創出までの期間・費用は、NxAQ®の目標値。

Platform

次世代パイプライン

有望性が実証された創薬標的に対する経口治療薬の開発

肥満症

アミリン受容体作動薬
市場規模 約200億米ドル（2030年）

既存のGLP-1製剤では十分な治療効果が得られていない患者層を対象

肥満症（次世代）

複数の標的
市場規模 約2,000億米ドル

既存薬の課題である副作用、筋肉量減少、治療中断等の克服を目指す

バセドウ病／甲状腺眼症

TSHR NAM
市場規模 約55億米ドル（2030年）

作用機序の有効性は既に検証済み、日本市場との親和性が高い

副甲状腺機能低下症

PTH1R作動薬
市場規模 約44億米ドル（2030年）

希少内分泌疾患で実績のある受容体

その他の開発進捗：肥満症・代謝領域のGLP-1作動薬およびGIPR標的プログラムも開発候補品の選定に向けて進展

提携に向けた臨床段階のアセット

炎症性腸疾患

EP4 作動薬 NXE’744 | P2試験開始準備完了
提携プロセスが進行中
付録（37ページ）参照

統合失調症

GPR52 作動薬 NXE’149 | P2試験開始準備完了
提携に向けた協議が継続中
付録（38ページ）参照

固形がん

EP4拮抗薬 NXE’732| CRUKとP2aを実施中
2026年末までに第2a相中間データを取得予定
付録（39ページ）参照

プログラムを絞り込み、開発を加速：次の成長を担う自社経口薬パイプラインが着実に進展

Source: EvaluatePharma. NAM:ネガティブ・アロステリック・モジュレーター



今後の展望 — 投資フェーズから成果創出フェーズへ

CEO クリストファー・カーギル

05

ビジネスモデル：日本事業の利益で英国の創薬を支え、創薬成果から提携収益を創出

各事業が相互に資金を供給し、リスクを低減して成長を加速

データの循環 各プログラムで得られた知見を次の創薬に活用し、精度とスピードを向上

創薬研究
NxWave® + NxAQ®:
独自のGPCRデータ、AI、物理学的手法を活用

開発
有望性が実証された標的に対し、ベスト・イン・クラスの医薬品を開発

提携（グローバル）
グローバル権利を導出し、契約一時金、マイルストン収入およびロイヤリティ収入を獲得

販売（日本・アジア太平洋）
日本・アジア太平洋地域での医薬品販売に加え、Lucerastatなどの導入品も展開

資金の循環 製品売上・提携による資金を創薬・開発に再投資

2030年に向けた5つのコミットメント

1 日本国内で5製品超の展開

日本：効率的な専門領域・希少疾患事業を展開

現在4製品をポートフォリオに保有スペシャリティ領域に特化した営業体制構築、プライマリ領域では提携を活用

2 DireclidineP3試験結果

提携先を厳選、大型提携を推進

Neurocrine、Lilly、AbbVie：45億米ドル超のマイルストン収入、ロイヤリティ収入

3 次世代経口薬の臨床移行

経口薬に注力したパイプライン

ベストインクラスの経口医薬品開発に注力、対象疾患は肥満症、甲状腺眼症、副甲状腺機能低下症

4 AI主導の創薬プロジェクト

学習・進化し続ける創薬エンジン

独自データとAI・物理学的手法を活用し、創薬初期段階に要する期間を約半分に短縮

5 売上収益500億円以上 営業利益率30%超

持続的な黒字成長を実現

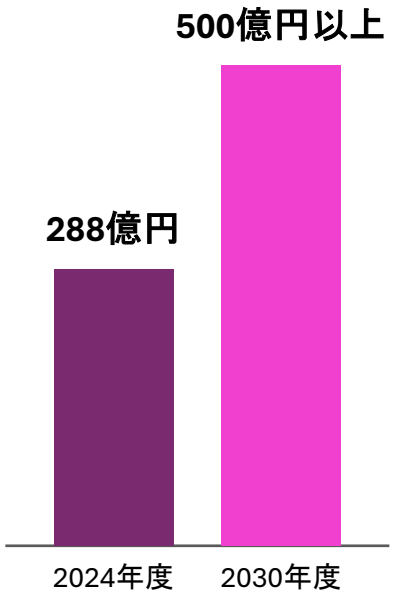
両事業で黒字化を達成し、製品売上収益と提携による資金を研究開発資金に充当

各事業が相互に資金を供給し、リスクを低減しながら事業全体の成長を加速

2030年ビジョンに向けた成長戦略：売上収益500億円超、営業利益率30%超

2024年度の売上収益288億円を起点に、4つの売上成長ドライバーと4つの利益率改善ドライバーを推進

売上収益の拡大



売上収益目標

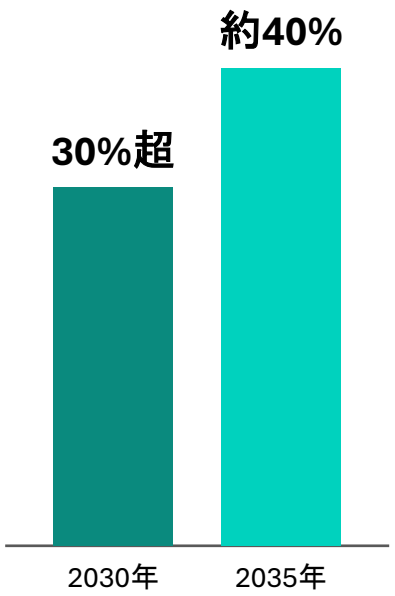
既存製品の売上拡大
PIVLAZ®は標準治療として定着。QUVIVIQ®は第1-3四半期で43%増、さらにアジア太平洋の新市場へ展開

AGAMREE®の上市
日本では2027年に承認申請、2028年に上市予定

スペシャリティ・希少疾患領域の製品拡充
P3試験段階にあるLucerastatをはじめ、次世代の製品ポートフォリオを拡充

提携による収益拡大
足元ではマイルストン収入、
提携先の開発品上市後はロイヤリティ収入を獲得

営業利益率の向上



営業利益率目標

効率的な医薬品販売体制
スペシャリティ領域に特化した営業体制
プライマリ領域と小規模市場では提携先を活用

既存の医療機関ネットワークを活用
新製品販売は既存製品と共通する医療機関へのアクセスを活用
VamorolonePIVLAZ®の対象施設は約70%が共通

ロイヤリティ収入の拡大
提携先の開発品の上市に伴い、
高利益率のロイヤリティ収入が増加

創薬コストの低減
開発候補品ごとの費用・期間を削減
全ての開発プログラムに中止判断基準を設定し、投資を効率化

足元で黒字化を実現するとともに、2030年に向けた売上成長と利益率改善の道筋を明確化

2027年末までの主要カタリストと重要なマイルストン

特に重要な3つのカタリストイベントと進捗状況を報告する主要マイルストン

2027年下期

Platform

DireclidineのP3試験結果

統合失調症を対象とするNeurocrineとの提携プログラム

2027年下期

Platform

ORX750のP2/3試験結果

ナルコレプシー/特発性過眠症（IH）を対象とする
Eli Lillyとの提携プログラム

2027年下期

Commercial

AGAMREE®日本での承認申請

デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象に
日本では2028年の上市を見込む

その他の主要マイルストン

2026年下期	新規提携（NXE’744またはNXE’149のライセンス契約締結を見込む）	2027年	Lucerastat P3試験の患者登録（日本を含む）
2026年下期	NXE’732 P2a試験の中間解析結果（Cancer Research UK）	2027年	CenerimodのP3試験結果
2027年	候補化合物の創出に向けた進展： Amylin, TSHR, PTH1R, GLP-1R, GIPR	2027年	韓国でのQUVIVIQ®承認判断／Synmosaによる上市
2027年上期	NxAQ®を活用してAIが設計した化合物の実験評価実施	随時	新規導出および日本向け後期開発品
2027年	ORX750 の承認申請に向けたP2/3試験の進展（Eli Lilly）		
2027年	ムスカリン受容体作動薬 P2試験の進展: NBI-’567, ’569, ’570 (Neurocrine)		
2027年	NXE’732 提携協議の開始		

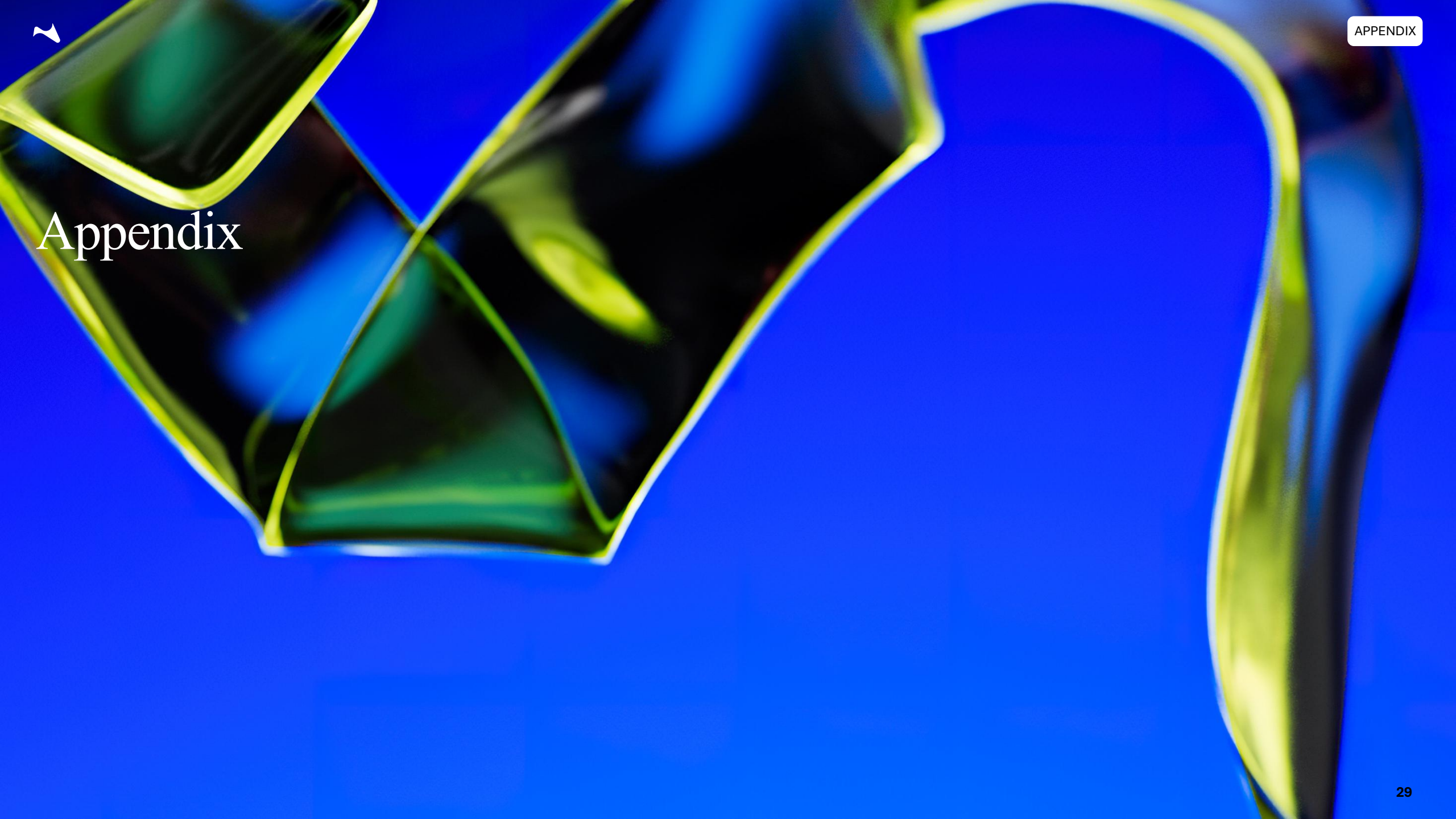
2026年に引き続き、すべてのマイルストンの進捗を目指す

Q&A

Thank you



Appendix



2026年12月期の業績予想の内訳

2026年2月発表時点

（百万円）	プラットフォーム*1	（対前年同期比）	＋ コマーシャル*2	（対前年同期比）	＝ 連結損益（コア）	（対前年同期比）	＋ ノンコア費用	＝ 連結損益（IFRS）	（対前年同期比）
売上収益	14,300	+40%	19,500	+0%	33,800	+14%	合計：7,100	33,800	+14%
売上原価	1,400	-34%	5,700	-5%	7,100	-13%	Ⓐ 償却費(1,800)	7,200	-12%
販管費*3	5,700	+15%	3,700	-32%	9,400	-10%	Ⓑ その他(3,100)	14,200	-7%
研究開発費*3	8,100	-31%	2,400	+78%	10,500	-19%	Ⓑ その他(1,500)	12,000	-17%
その他収益	1,000	-615	-	+7	1,000	-608	(700)	300	+489
営業損益	100	+6,999	7,700	+18%	コア営業利益 7,800	+8,152		営業利益 700	+9,162

Ⓐ 主にピヴラッツとクービビックの無形資産の償却

Ⓑ その他の無形資産（知財等）の償却、有形固定資産（実験設備等）の償却、株式報酬費用、およびその他の統合関連・構造改革費用

*1 = ネクセラファーマ株式会社（旧そーせいグループ株式会社）+ Nxera Pharma UK Ltd（旧Heptares Therapeutics Ltd.）、但し、ネクセラファーマ株式会社のスイス支社を除く
*2 = ネクセラファーマジャパン株式会社 + Nxera Pharma Korea + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社
*3 = 25年11月より実施している事業再構築の効果は、26年後半により顕在化すると見込んでいます

主要パイプライン

	基礎～前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	上市済み
Commercial				Vamorolone デュシェンヌ型筋ジストロフィー ★インライセンス		ピヴラッツ® 脳血管攣縮
				Lucerastat ファブリー病 ★インライセンス		クービビック® 不眠症 SHIONOGI
Platform 自社	肥満・代謝領域のベストインクラス	GPR52作動薬NXE'149 統合失調症	EP4拮抗薬NXE'732 進行性固形がん CANCER RESEARCH UK			
		EP4作動薬NXE'744 炎症性腸疾患				
Platform 提携	創薬提携 Lilly 糖尿病/代謝性疾患 abbvie 神経疾患	M_1M_4作動薬NBI'569 AD*の精神症状 NEUROCRINE BIOSCIENCES	M_4作動薬NBI'568 双極性障害 NEUROCRINE BIOSCIENCES	M_4作動薬NBI'568 統合失調症 NEUROCRINE BIOSCIENCES		
			M_1M_4作動薬NBI'570 統合失調症 NEUROCRINE BIOSCIENCES ★フェーズ2開始			
			M_1作動薬NBI'567 AD*/LBD* NEUROCRINE BIOSCIENCES ★フェーズ2開始			
		OX2作動薬ORX489 神経疾患 Lilly ★フェーズ1開始	OX2作動薬ORX142 神経疾患 Lilly ★フェーズ2開始	OX2作動薬ORX750 ナルコレプシー/IH Lilly ★フェーズ2/3開始		
その他				Cenerimod SLE VIATRIS		シーブリ他 COPD/喘息 NOVARTIS

一定段階まで自社開発し、価値を高めた上でパートナー企業に導出。その際、適応症によっては日本(およびその他の地域)における権利を自社で保持

★ 2026年の現在までの進捗

* AD:アルツハイマー病, LBD:レビー小体型認知症
*NXE0039732(EP4拮抗薬)はCancer Research UKが第Ⅰ/Ⅱa 相臨床試験の資金を拠出。権利は当社が保有。

Commercial

日本におけるクービビック®の成長とグローバル臨床データが示す新たな可能性

日本市場で拡大するとともに、グローバルの臨床データを通じて新たな開発機会が拡大

日本での成長

830億円 国内DORA不眠症市場（2025年）

39% 不眠症治療薬（錠剤）に占めるDORAのシェア（2026年）。2019年は11%

約9% DORA内でのクービビック®のシェア（2026年半ば）。発売から2年未満で達成

+43% 2026年度1-3Qの売上高は45億円に成長

グローバルで蓄積される臨床データ

- **日中機能**：P3試験でIDSIQ眠気スコアがプラセボ比で改善
- **小児不眠症**：10歳以上18歳未満（自閉スペクトラム症またはADHDの小児を含む）を対象としたP2用量設定試験で良好な結果
- **併存疾患を伴う不眠症**：うつ病、アルツハイマー病の予防、更年期、物質使用障害を対象とした研究者主導試験を実施

当社の取り組み

- **日本**：塩野義製薬が国内でのクービビック®の販売を担当
- **開発権**：日本においてDaridorexantの追加臨床開発を実施できる権利を保有。小児不眠症や併存疾患を伴う不眠症などへの開発拡大が可能
- **アジア太平洋**：
  - ✓ 台湾：承認取得
  - ✓ 韓国：承認申請中
  - ✓ Synmosa社と8市場を対象としたライセンス契約を締結（2026年10月）

クービビック®は日本での成長初期段階にあり、足元のシェア拡大に加え、将来的な新たな成長機会も期待

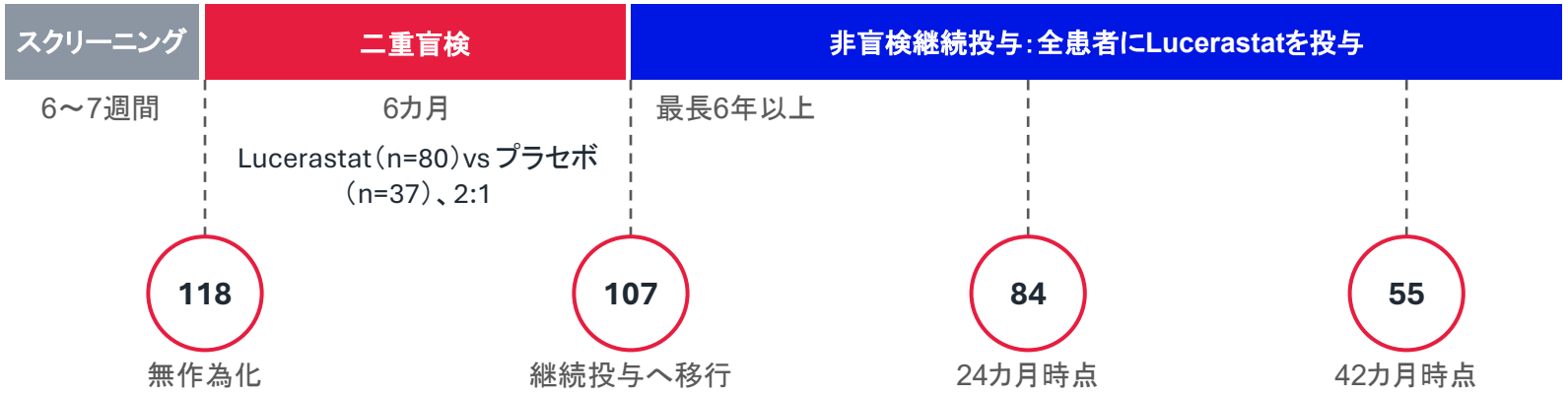
Daridorexantは日本において小児および上記適応症では未承認。出典：当社分析；Mignot E et al., Lancet Neurol 2022；Idorsia社投資家向け資料（2026年7月）

Commercial

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

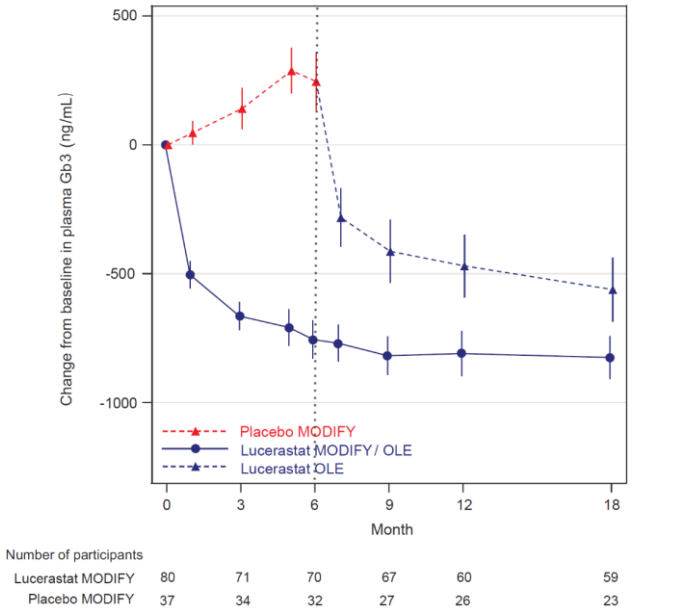
MODIFY試験：無作為化フェーズ3試験から非盲検継続投与試験へ



Gb3低下:
- 6カ月時点で血漿中Gb3はプラセボ比874 ng/mL低下
- プラセボ群でもLucerastatへの切り替え後に低下
- 長期投与により約51%低下

試験結果:
- 主要評価項目である神経障害性疼痛については未達
- ファブリー病において疼痛は評価が難しいことが判明
- 結果を踏まえ承認申請プログラムでは腎臓を評価対象に設定

血漿中Gb3：Lucerastat vs プラセボ



Change from baseline in plasma Gb3 (ng/mL). Nordbeck P et al., Nat Commun 2026

Lucerastatはファブリー病の原因物質であるGb3を低下させ6年間の安全性実績があり、重篤な有害事象は報告されていない

ルセラスタットは治験段階の薬剤であり、いかなる国でも承認されていません。
出典：Nordbeck P et al., Nat Commun 2026; Idorsia（42ヶ月間の中間安全性データ）。

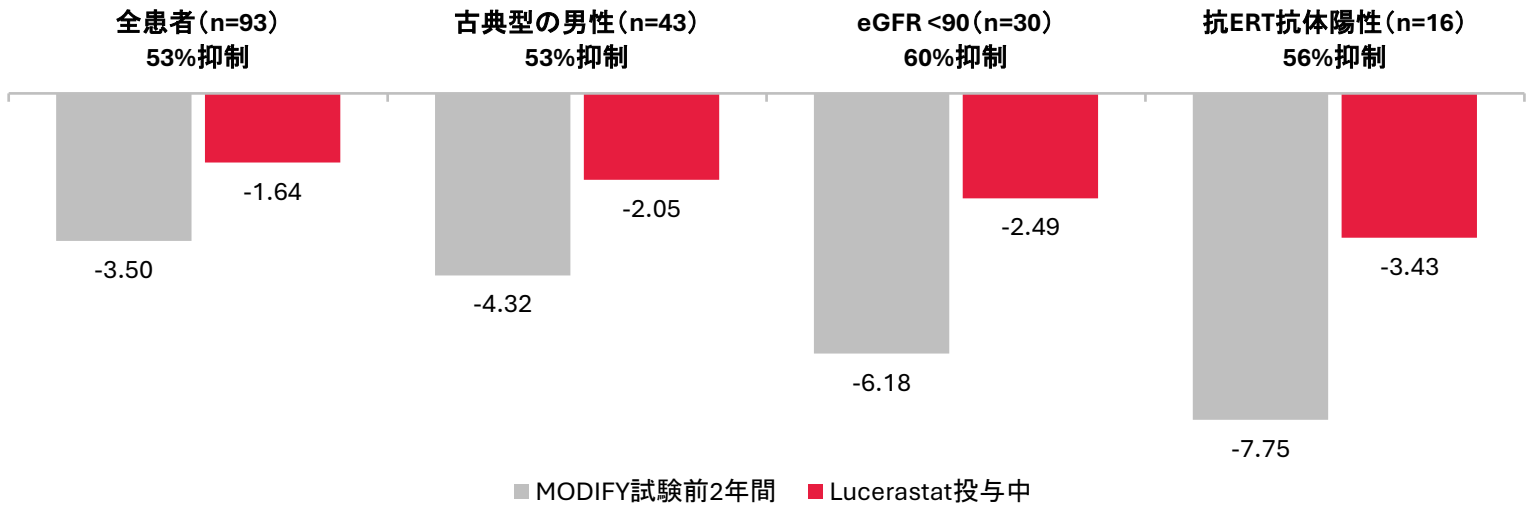
参考資料

Commercial

Lucerastatの腎機能低下抑制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/1.73m^2/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

P3試験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

Lucerastatは開発中の薬剤であり、いずれの国でも未承認。出典：Wallace E et al., Mol Genet Metab 2026;147:109659；Germain DP et al., Mol Genet Metab 2026;147:109423；Idorsia社

Platform

NxWave®により創製されたパイプラインのマイルストン達成状況（2026年）

✓：3Qに達成

ステージ	提携先	マイルストンの内容	金額	時期
創薬	abbvie	神経疾患における複数標的の提携 開発マイルストン（3件目・4件目）	**1,000万＋1,000万米ドル**	2026年4月・6月
	Lilly	糖尿病・代謝性疾患における複数標的の提携 開発マイルストン（2件目）	**非開示**	2026年4月
	Nxera	GPCRプログラムを新設のスピンアウト企業に導出。 当社も同社のシリーズAに参加	**最大2.75億米ドル＋ 段階的ロイヤルティ**	2026年2月・5月
臨床	CENTESSA PHARMACEUTICALS Lilly	研究提携マイルストン（ORX489）	**180万＋300万米ドル**	2026年2月・3月
	CENTESSA PHARMACEUTICALS Lilly	研究提携マイルストン（ORX142）	**360万米ドル**	2026年1月
	CENTESSA PHARMACEUTICALS Lilly	後期開発の進捗マイルストン（ORX750）	**860万米ドル**	✓ 2026年9月
	NEUROCRINE BIOSCIENCES	NBI-’570のP2試験（統合失調症）で最初の患者に投与。 NBI-’567のP2試験のIND受理（アルツハイマー病の認知機能）	**2,250万＋1,000万米ドル**	✓ 2026年4月・8月

NxWave® SBDDプラットフォームは、創薬研究から臨床開発に至る各段階で、提携先とのマイルストン達成に継続的に貢献

Nxera

オレキシン・ポートフォリオ：Centessaが買収前に公表した独自の売上予測

Lillyによる買収前の2025年11月に公表された、リスク調整後の長期売上予測

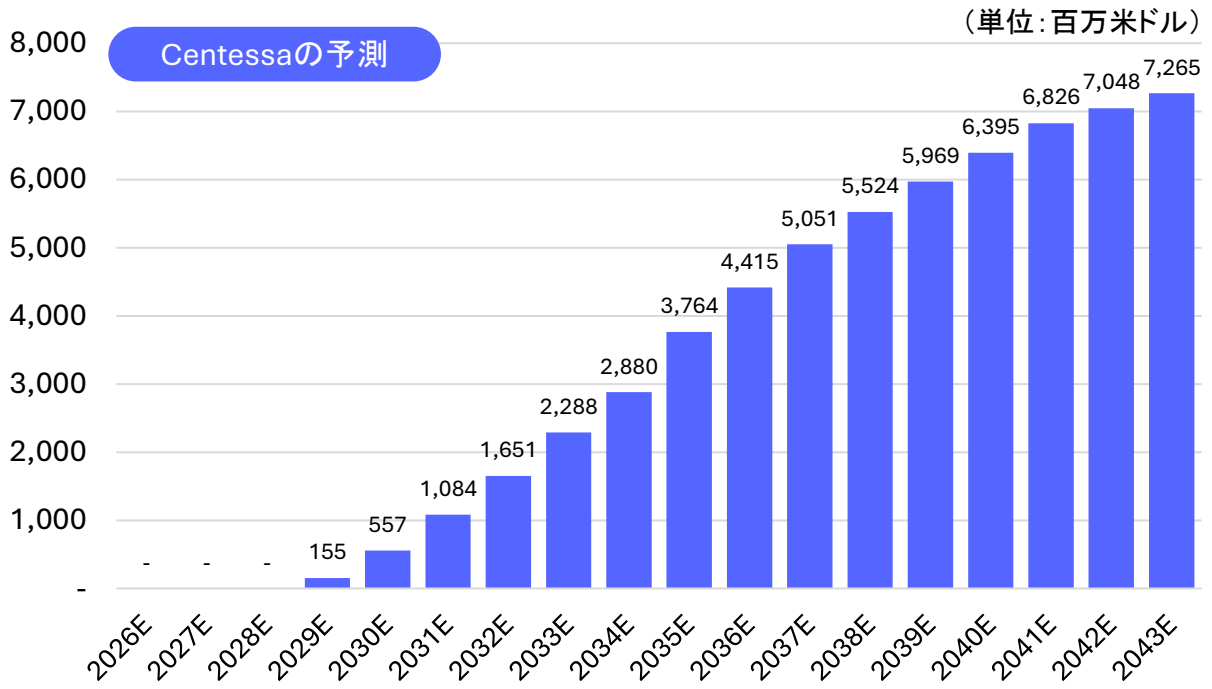
Centessaのパイプライン (ORX750 / ORX142 / ORX489)

新たな治療領域として注目されるオレキシン2受容体（OX2R）作動薬において、ベスト・イン・クラス／ファースト・イン・クラスとなる可能性

- **ORX750**
  ナルコレプシー1型（NT1）、2型（NT2）、特発性過眠症（IH）の治療
- **ORX142**
  神経疾患・神経変性疾患の治療
- **ORX489**
  精神神経疾患の治療
- その他の適応症を対象とする初期段階のOX2R作動薬・治療薬

化合物	hOX2R EC50 (nM)	hOX1Rに対する選択性
内因性リガンドオレキシンA (OXA)[1]	0.035	n/a
ORX750[1]	**0.110**	**9,800倍**
ORX142[2]	**0.069**	**13,000倍**
ORX489[3]	**0.035**	**8,800倍**

買収前のリスク調整後の長期売上予測



ヒトOX2Rを安定発現するチャイニーズハムスター卵巣（CHO）細胞を用いた蛍光イメージングプレートリーダー（FLIPR）アッセイ。1. Black et al., World Sleep 2023 Abstract； 2. Black et al., European Sleep Research Society 2024 Abstract； 3. 会社データ・プレゼンテーション

Eli Lillyによる買収前にCentessaが公表したリスク調整後の長期売上予測では、2043年の全社売上収益が70億米ドルを超えると予測

Source: Centessa社 コーポレートプレゼンテーション(2025年11月)

Platform

NXE’744: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

EP4作動薬は、標準療法に対し差別化された作用機序を提供

- バリア恒常性および炎症調節により、IBD 治療における魅力的な 作用機序と位置づけられる

腸管腔

粘膜

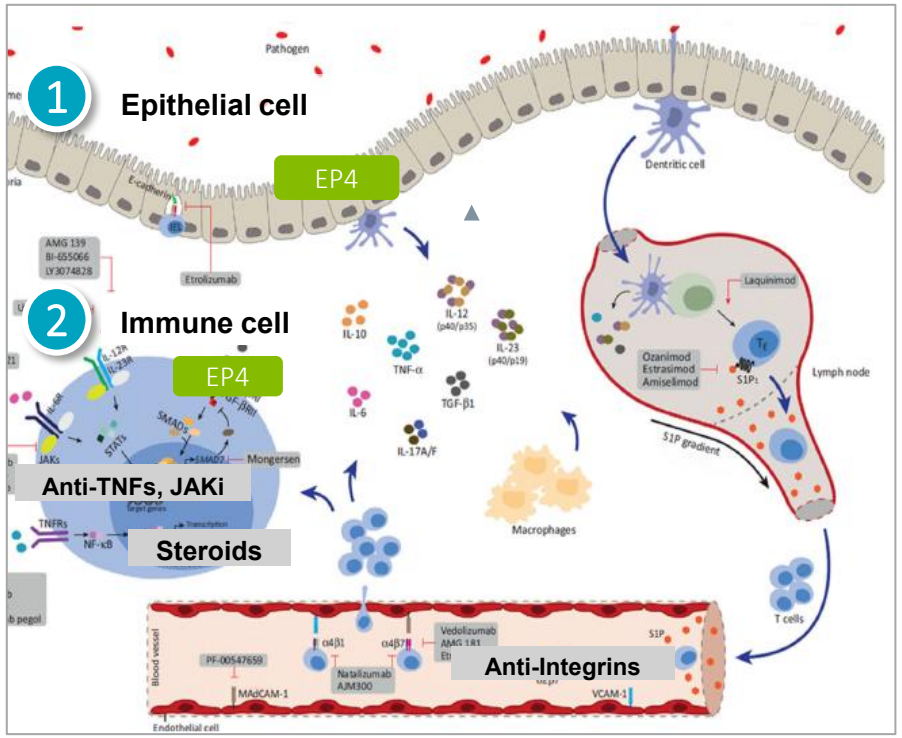
全身（循環）

腸管腔内に限定

腸管粘膜を標的

全身に吸収

現在の IBD 治療 (SOC)



Adapted from (Weisshof et al 2018)

ヒト初回投与試験の全項目において臨床での投与が完了

- **SAD/MAD試験は完了**しており、現時点で懸念される有害事象は認められておらず、全身曝露も確認されていない
- 経口投与後に腸管組織中での高濃度が確認され、**腸管局在型プロファイルを確認**
- **UC患者コホートの投与が完了**(n=6)し、中間解析で腸管組織中の高濃度を確認
- **インドメタシン負荷試験コホートは完了**、中間解析も完了。被験者の追加は不要。
- 予備データ解析では、NXE’744 投与群で **インドメタシン誘発透過性が約50%有意に低下**。これらのデータは**小腸における標的エンゲージメントを確認**

臨床試験リンク:こちら

NXera

Platform

NXE’149:統合失調症に対するGPR52作動薬

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

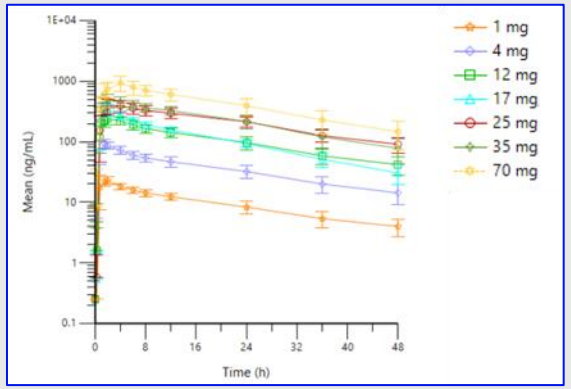
フェーズ1試験のハイライト:

- ✓ 安全性・忍容性ともに良好
- ✓ ヒトPKデータはばらつきが小さく、1日1回投与に適したプロファイル
- ✓ 高い中枢移行性
- ✓ PDデータは、統合失調症および関連疾患の治療に関わる脳回路への作用を示す

フェーズ2 試験への移行準備:

- 2動物種で3か月GLP毒性試験
- 2動物種でEFD試験完了
- 代謝物特性評価完了
- 原薬および製剤はフェーズ2試験開始分を確保済み

SAD PK データ



EEGおよびERP指標

- NXE’149はMMNおよびASSR応答の基盤となる前頭側頭回路に明確に作用（MMNとASSRはいずれも統合失調症における再現性の高いバイオマーカー）
- 安静時EEGデータから、投与10日目に覚醒度の上昇が示唆

認知

Cogstate評価において、投与10日目に全用量で認知機能の改善を確認

General cognitive composite	Dose 1	Dose 2	Dose 3	Dose 4
Attention/Executive Function	0.89	1.5	0.69	0.64
General Cognition	1.1	0.84	0.77	0.55

Standardized differences between each dose of NXE’149 compared to placebo

NXE’732：固形がんに対する新規がん免疫療法（EP4受容体拮抗薬）

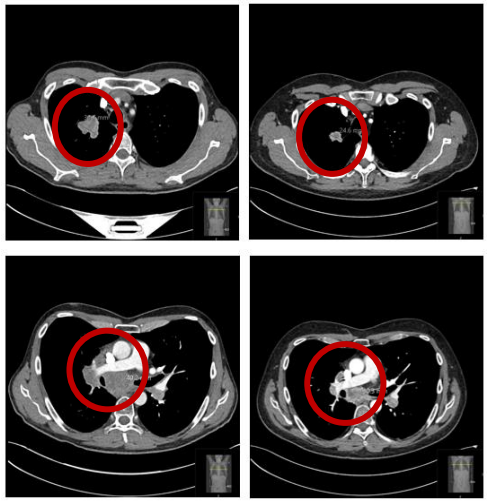
アテゾリズマブ併用のフェーズ2a拡大パートが進行中

疾患メカニズムとの関連

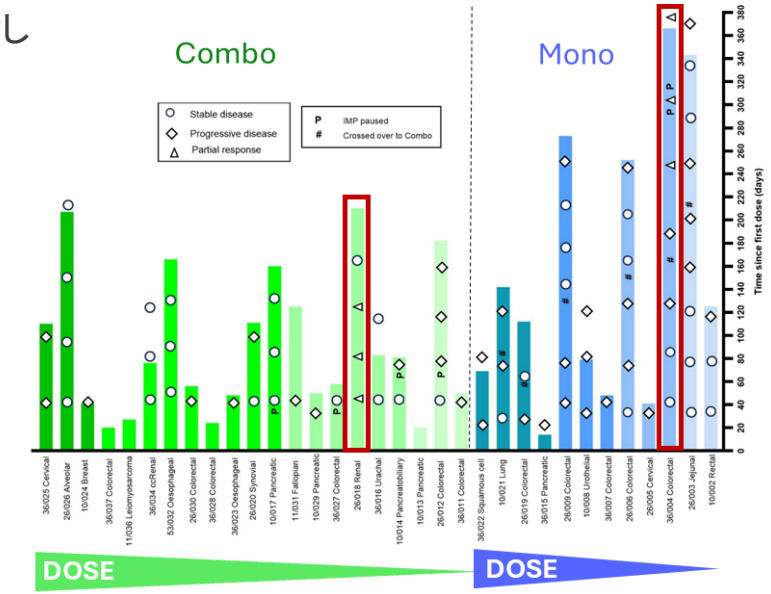
- EP4が活性化すると、免疫反応を抑え、腫瘍の増殖を促進する
- EP4拮抗は有望 – 胃がんでのONO-4578 最新臨床データにより支持
- NXE-732は**高い力価・選択性・安全性の実現を目指して設計**

フェーズ1試験結果

- NXE-732の最新データは、ベストインクラスとなり得るプロファイルを示唆
- 併用群で、MSS大腸がんと 抗PD-L1抵抗性の淡明細胞型腎細胞がん（ccRCC） で、部分奏効（PR）を2例観察。いずれも腫瘍縮小は30%超
- 標的エンゲージメントを確認、DLT（用量制限毒性）なし



ベースライン　　3か月



フェーズ2a 拡大試験が進行中:
MSS大腸がん （PIK3CA、 HER2± ほか）、胃/食道胃接合部（GOJ）腺がん、腎（ccRCC）、前立腺（CRPC）

Study Link: ClinicalTrials.gov

Appendix：2026年の重点目標および主要カタリスト

達成　進行中　時期変更

	プログラム／コミットメント	提携先	時期	状況・詳細	金額
プラットフォーム事業					
✓	ORX142（OX2作動薬）	Lilly	2026年1月	フェーズ2試験開始	360万米ドル
✓	ORX489（OX2作動薬）	Lilly	2026年3月	フェーズ1試験開始	300万米ドル
✓	ORX750（OX2作動薬）	Lilly	2026年9月	NT1/NT2/IHを対象とした承認申請用フェーズ2/3試験開始	860万米ドル
●	ORX750（OX2作動薬）	Lilly	2026年	NT1、NT2、IHにおけるフェーズ2aデータ	
✓	NBI'570（M1/M4作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年4月	フェーズ2試験開始	2,250万米ドル
✓	NBI'567（M1作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年8月	フェーズ2 IND受理（アルツハイマー病の認知機能）	1,000万米ドル
●	NBI'567（M1作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年4Q	フェーズ2試験開始	
●	NBI'567 / '569 / '570	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年	フェーズ1データ開示	
✓	創薬提携	Lilly abbvie	2026年上期	創薬段階の進展（2026年に3件のマイルストン）	2,000万米ドル＋非開示
●	NXE'732（EP4拮抗薬）	CANCER RESEARCH UK	2026年下期	フェーズ2a中間データ	
●	新規グローバル提携	Nxera	2026年下期	新規提携（NXE'744またはNXE'149のライセンス契約を想定）	
→	NxAQ®の最初のプログラム	Nxera	2027年上期	AI設計化合物の初のラボ評価	
コマーシャル事業					
✓	クービビック®のAPAC導出	健栄信元 synmosa	2026年10月	APAC 8市場におけるライセンス・供給・販売契約	非開示
✓	日本・APACでの導入	idorsia	2026年10月	Lucerastat：ファブリー病を対象としたフェーズ3段階の経口治療薬	約850万米ドル
→	Cenerimod	VIATRIS	2027年上期	フェーズ3データ取得（提携先により時期変更）	
●	Vamorolone		随時	オーストラリア・ニュージーランドでの導出契約	
コーポレート					
●	通期IFRSベースでの黒字化		2026年度	計画を上回るペース：1-3QのIFRS営業利益32億円、コア営業利益98億円	

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