



# 2024年12月期中間期決算説明資料

2024年8月9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。

- 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 2024年の目標
- 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月期中間期業績ハイライト

新規提携や開発マイルストンの達成により、順調な事業進捗

01

**売上収益は12,720百万円(前年同期:2,146百万円)**

主に、(i) ピブラッツ®の販売額追加、(ii) 2024年3月のベーリンガー社との新規ライセンスのオプション契約締結、(iii) M4の長期毒性試験成功によるニューロライン社からの15百万ドルのマイルストーン、(iv) Centessa社からの4.6百万ドルのマイルストーン、(v) アツヴィ社からのマイルストーン10百万ドルにより売上収益は増加

02

**コア営業利益は1,176百万円の利益(前年同期:2,720百万円の損失)**

売上収益の増加が寄与。2023年7月にNPJ/NPK\*を連結範囲に含めたことによりコア費用が4,988百万円増加し、コア営業収益の増加を一部相殺

03

**営業損益は3,654百万円の損失(前年同期:4,168百万円の損失)**

無形資産の償却費、売上原価調整額(買収時のピヴラッツ®の在庫評価)、および統合関連費用などが、ノンコアの費用として発生

04

**現金及び現金同等物は509億円**

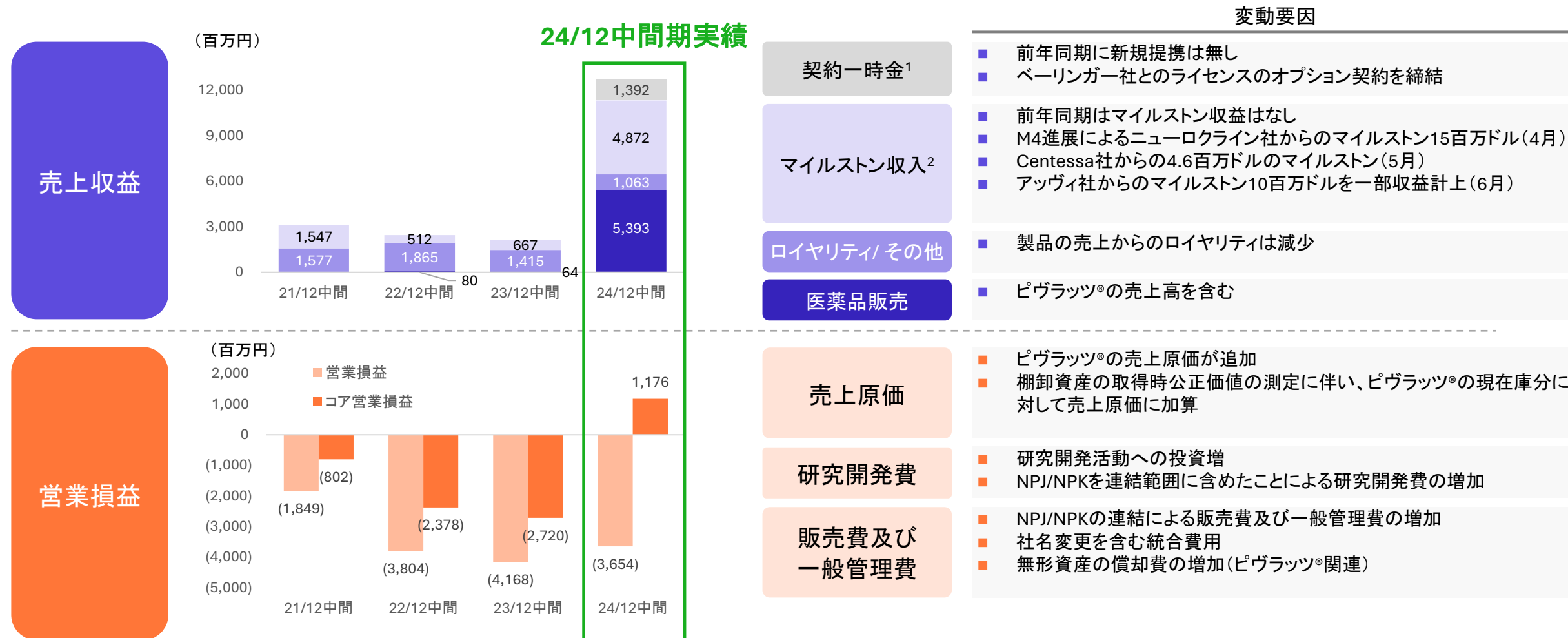
十分なキャッシュ残高と投資余力を維持

\* NPJ: ネクセラファーマージャパン株式会社、NPK: Nxera Pharma Korea Co., Ltd.



# 主要決算数値

ピヴラッツ®の販売額、ベーリンガー社との新規提携および複数の開発マイルストーンが売上収益に寄与



<sup>1</sup> 契約開始時に認識された契約一時金

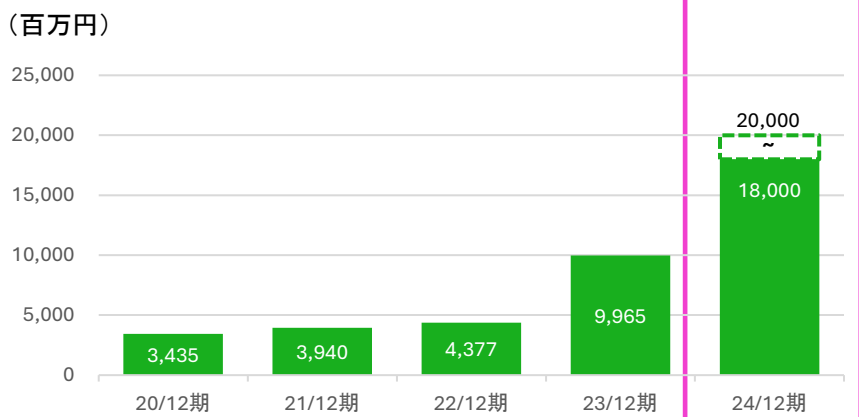
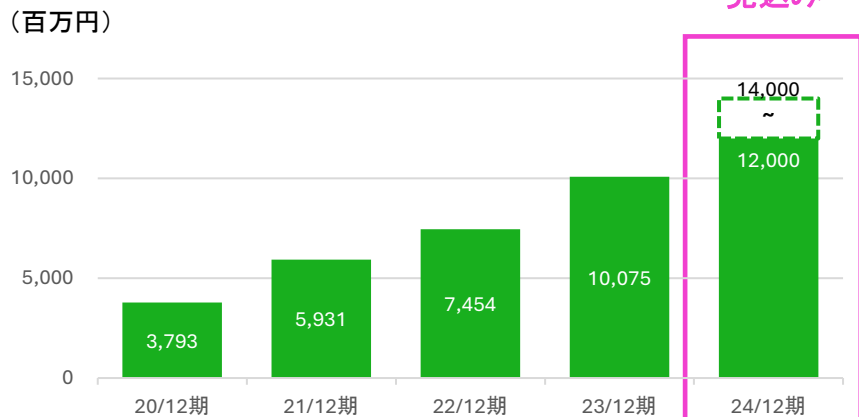
<sup>2</sup> マイルストーン達成時に認識されたマイルストーン収入 + 前受金取崩額



# 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

見込み



## 研究開発費 (IFRSベース)

12,000百万元～14,000百万元

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

- 一つ以上の臨床試験開始
- 自社で臨床試験を進めることで、ライセンス時の価値を高める

## 販売費及び一般管理費 (IFRSベース)

18,000百万元～20,000百万元

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)

\* NPJ: ネクセラファーマージャパン株式会社、NPK: Nxera Pharma Korea Co., Ltd.



# 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

目標達成に向けて戦略を実行し長期的な成長を加速

1

ピヴラッツ®の売上高は160億円以上  
(薬価ベース)

- 2024年上期の売上高は65億円(年12%成長)
- KOLを集めたフォーラムを6月に開催し、さらなる普及を見込む(約1,400人の医療従事者が参加)

2

ダリドレキサントの日本での承認取得

- 2024年下期の承認取得に向けて順調に進捗

3

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

- 複数の協議が進行中

4

1つ以上の価値の高い提携契約を締結し、自社による第 I 相臨床試験を1つ以上開始

- ベーリンガー社と新規のライセンスの独占的オプション契約(GPR52作動薬)
- EP4受容体作動薬の第 I 相臨床試験開始

5

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

- 新ブランド「ネクセラファーマ」が始動
- 複数のITシステム統合が完了もしくは進行中

長期的な成長を見据え、上期は地に足の着いた目標実行と投資に注力



# パイプラインの進捗

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

## ターゲット特定



戦略的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

## 創薬前



「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

## 創薬



「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

## 第 I 相



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の第 I 相臨床試験開始

[PR LINK](#)

2024年3月



ナルコレプシー治療薬候補OX750(OX2R作動薬)の第 I 相臨床試験開始に伴い4.6百万ドルのマイルストーンを受領

[PR LINK](#)

2024年5月



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



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の第 I 相臨床試験開始

[PR LINK](#)

2024年5月

## 第 II 相



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

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

# 医薬品市場で最も急成長している領域で存在感を発揮

神経精神疾患、代謝性疾患および睡眠障害領域のグローバルリーダーと協業

## 神経精神疾患



- 統合失調症を対象とした経口投与可能なムスカリンM4作動薬 (NBI-568) の第 II 相臨床試験のPoC<sup>1</sup> データが2024年第3四半期に発表予定

ブロックバスターとなる可能性

- 臨床開発中のムスカリン系化合物としては世界最大のポートフォリオ (当社が導出)

- 第 I 相臨床試験中のファーストインクラスの治療薬候補 GPR52 作動薬 (NXE-149) についてベーリンガー社とオプション契約

- 統合失調症の陽性症状、陰性症状および認知機能障害を同時に改善する可能性

## 代謝性疾患



- ファイザー社が「NxWave™」プラットフォームを利用
- PF'522は2型糖尿病を対象とした経口低分子 GLP-1 受容体作動薬

ブロックバスターとなる可能性

- イーライリリー社が「NxWave™」プラットフォームを利用
- 複数の次世代経口低分子化合物の創薬が進行中

ブロックバスターとなる可能性

## 睡眠障害



- Centessa社が「NxWave™」プラットフォームを利用
- ナルコレプシーを対象とした経口投与可能な低分子OX2R作動薬 (ORX-750) が第 I 相臨床試験中

ブロックバスターとなる可能性

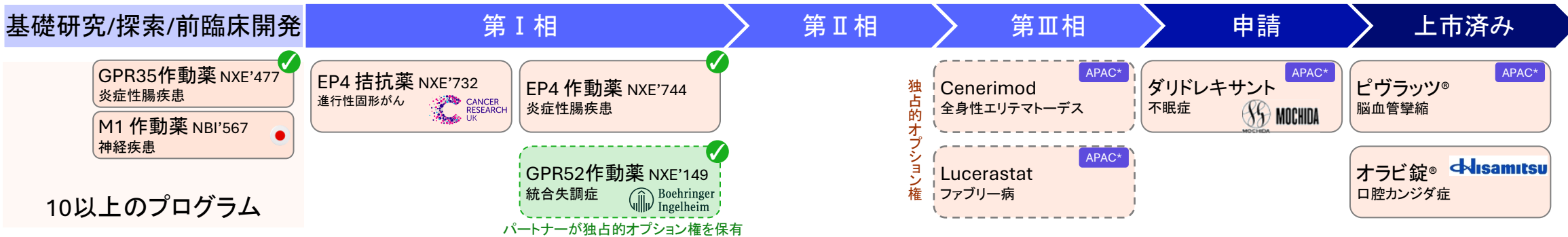
医薬品市場で最も成長している領域で、適切なパートナーと提携することにより、理想的なポジションを確保



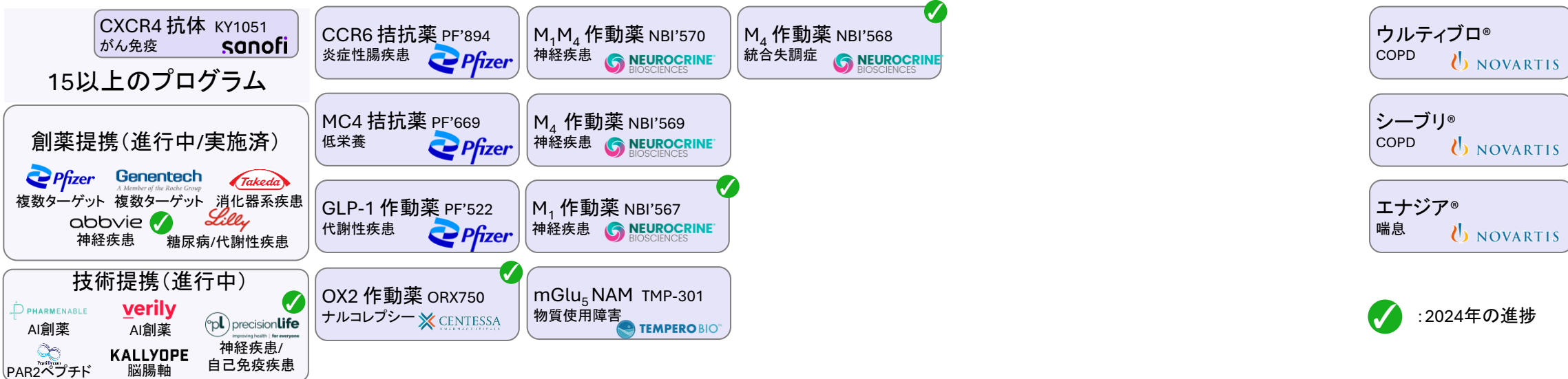
# パイプライン一覽

幅広い臨床開発パイプラインを保有

自社開発



提携



日本から世界にイノベーションを届け、医薬品の次の時代におけるリーダーとなる

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。



# 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  
田中 諭

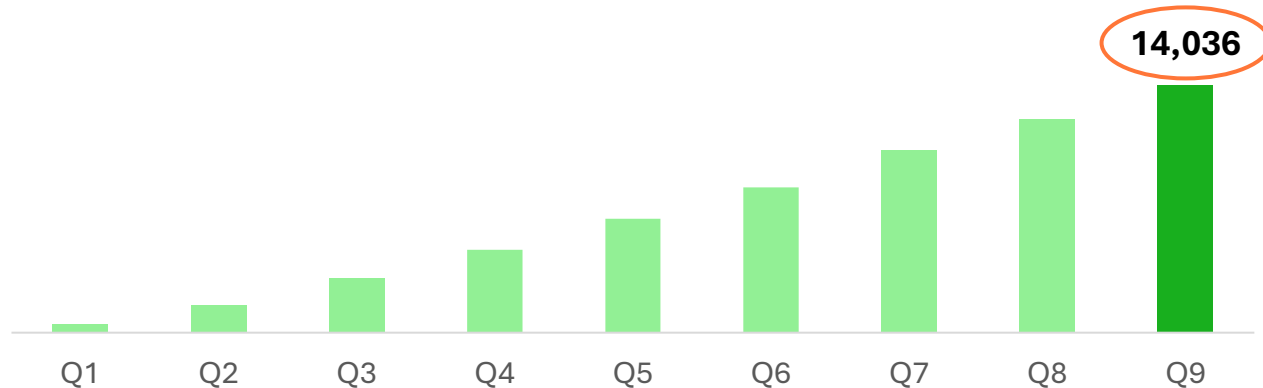
03

# 当社製品:ピヴラッツ®

2024年のピヴラッツ®の販売額は160億円\*以上を見込む



## ピヴラッツ®による治療を受けた患者数(累計)



## 売上(薬価ベース、百万円)



\*薬価ベースの売上。決算資料にある売上とは異なることに留意

- くも膜下出血術後の脳血管攣縮の発症予防における新たな標準治療へ
- 日本での市場シェアは継続的に拡大
  - ピヴラッツ®の市場シェアが2023年上期の約40%から2024年上期には約60%に拡大(患者数ベース)
- 2024年6月にKOLを集めたSAH(くも膜下出血)フォーラムを開催。約1,400人の医療従事者が参加し、さらなる普及を見込む





# 当社の自社開発品:ダリドレキサント

2024年下半期に予定している日本国内の承認に向けて順調に進捗



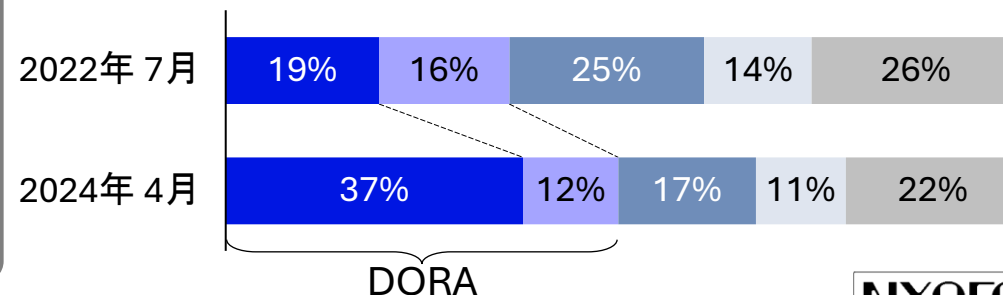
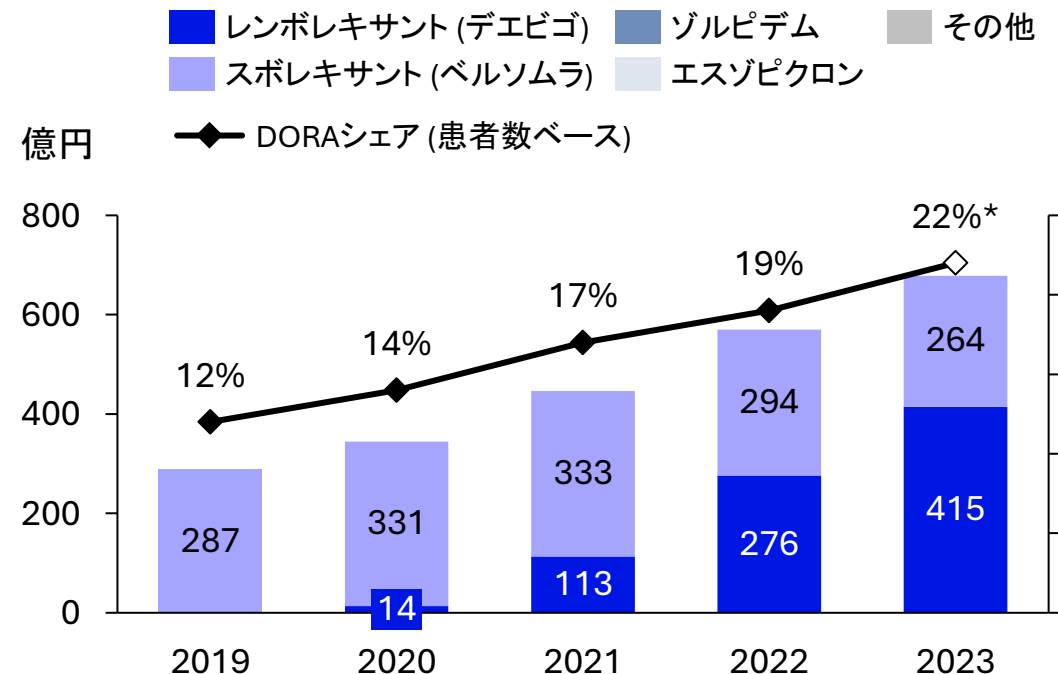
## ダリドレキサントについて

- 不眠症を対象としたデュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)
- 米国、欧州、カナダで承認 (2022年) - QUVIVIQ®として販売
- 2022年10月に日本の第Ⅲ相臨床試験で良好な結果が報告され、2023年10月に新薬承認申請を実施
- 2038年までの市場独占権 (日本と韓国)

## DORA: 不眠症治療におけるポジションを急速に確立

国内のDORAの薬価ベース売上高および市場シェア

最も処方頻度の高い睡眠薬



出所: 日経メディカル (2022/7/23, 2024/4/13)、IQVIA、Encise  
\*2023年は予想値



## 日本/APAC事業の加速

外部パートナーやアライアンスを活用し、日本/APACビジネスのポテンシャルを最大化



### 販売 / マーケティング

- Handok社と独占的販売契約を締結
- Handok社は韓国におけるピヴラッツ®のプロモーション、マーケティング、販売、流通を独占的に行う



- 韓国を代表するイノベーション主導型の製薬・ヘルスケア企業
- これまで提携を通じ、韓国市場で数多くの新製品を市場投入してきた実績を有する



### 導入のための活動

- World Orphan Drug Alliance (WODA) への参画
- 希少疾患の新薬パイプラインへアクセスすることが可能となり、導入機会を獲得
- 当社は日本および韓国におけるWODAのパートナー



- 希少疾患の治療薬やスペシャリティ医薬品へのアクセスを世界中に提供することを目的とした、医薬品販売業者のグローバルアライアンス





# 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





# 臨床試験段階の提携プログラム

神経疾患、自己免疫疾患および代謝性疾患領域で9つの臨床開発プログラムが進行中



## M4受容体作動薬

統合失調症 - 第 II 相



NBI-1117568

成人の統合失調症患者を対象とした経口 M4 作動薬。長期毒性試験成功に伴い150万ドルのマイルストーンを受領。2024年第3四半期に第 II 相臨床試験結果の発表予定

## M4受容体作動薬

神経疾患 - 第 I 相



NBI-1117569

神経・精神疾患を対象とした経口の M4 作動薬 (Preferring agonist)。第 I 相臨床試験を実施中

## GLP-1受容体作動薬

代謝性疾患 - 第 I 相



PF-06954522

経口の GLP-1 受容体作動薬。第 I 相試験を開始

## mGlu<sub>5</sub> NAM

物質使用障害 - 第 I 相



TMP-301

物質使用障害に対する第 I 相臨床試験が進行中



## M1受容体作動薬

神経疾患 - 第 I 相



NBI-1117567

神経・精神疾患を対象とした経口の M1 作動薬 (Preferring agonist)。第 I 相臨床試験を開始

## M<sub>1</sub>M<sub>4</sub>受容体作動薬

神経疾患 - 第 I 相



NBI-1117570

神経・精神疾患を対象とした経口の選択的 M1/M4 デュアル作動薬。第 I 相臨床試験を実施中

## MC4受容体拮抗薬

低栄養 - 第 I 相



PF-07258669

clinicaltrials.gov 上では MAD 試験が完了



## OX2R作動薬

ナルコレプシー - 第 I 相



ORX-750

ナルコレプシーに対する第 I 相臨床試験を開始

## CCR6受容体拮抗薬

炎症性腸疾患 - 第 I 相



PF-070548942

第 I b 相臨床試験は計画通り進行中。2024年中に完了予定



: 2024年の進捗

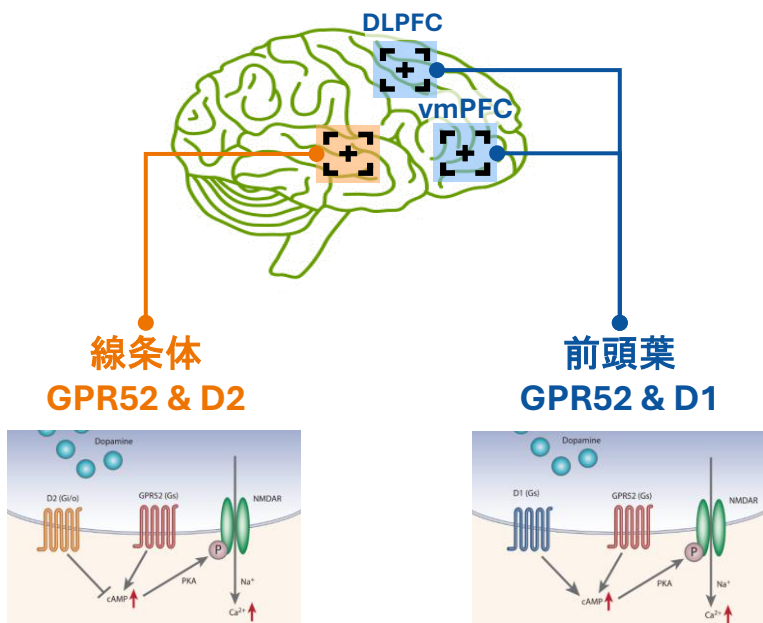
- Centessa社に関するプレスリリース: <https://ssl4.eir-parts.net/doc/4565/tdnet/2452046/00.pdf>
- NBI-1117568の試験情報: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05545111>
- Neurocrine NBI'567に関するプレスリリース: <https://ssl4.eir-parts.net/doc/4565/tdnet/2431712/00.pdf>
- Neurocrine NBI'568に関するプレスリリース: <https://ssl4.eir-parts.net/doc/4565/tdnet/2422332/00.pdf>

# 統合失調症を対象としたGPR52受容体作動薬

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

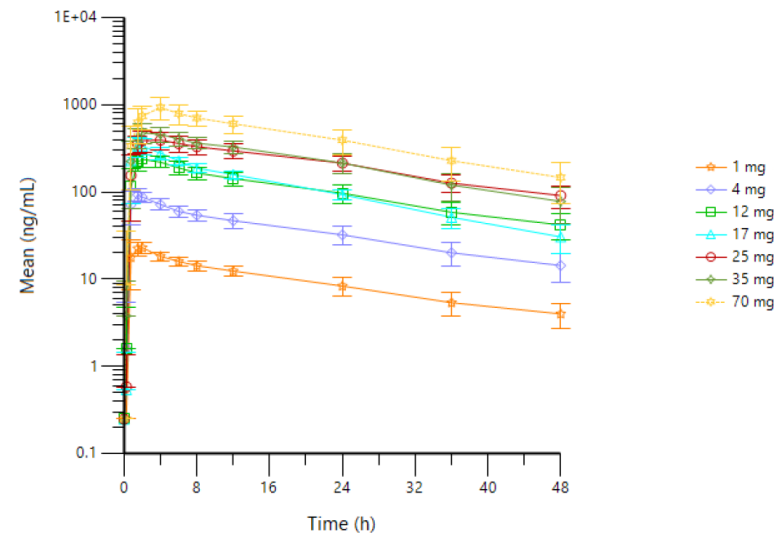
## 疾患メカニズムとの関連

- 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



## これまでの結果

- 2023年6月、当社は「NxWave™」プラットフォームを用いて同定を行い、GPR52を治療標的とする第 I 相臨床試験を開始した最初の企業となった
- NXE0048149はSBDDを用いて開発された、1日1回投与を想定した化合物
- 第 I 相臨床試験は順調に進捗しSADを完了。中間の薬物動態試験データは前臨床データからの予測と整合しており、想定用量範囲では線形に応答しばらつきも少ないことから、1日1回投与の想定とも整合
- 現在、薬力学的測定を含む第 I 相臨床試験のMAD試験を実施中



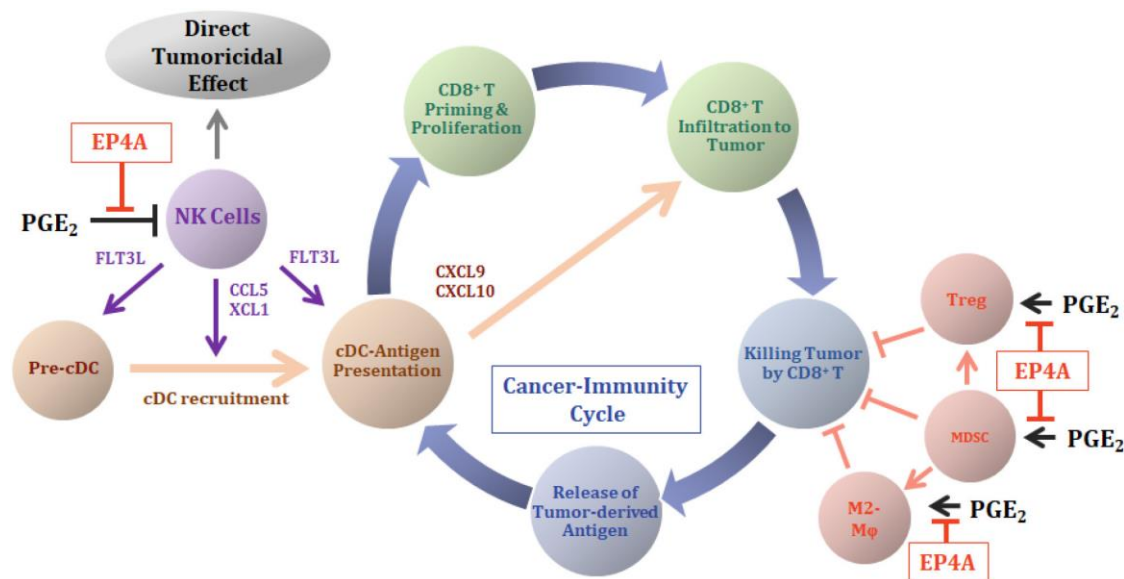
# 進行性固形がんを対象としたEP4受容体拮抗薬

単剤もしくは免疫チェックポイント阻害剤(CPI)との併用



## 疾患メカニズムとの関連

- プロスタグランジンE2(PGE2)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の効果増強が期待される
- 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



## これまでの結果

- 「NxWave™」プラットフォームを用いて同定された選択的EP4受容体拮抗薬
- 薬物動態試験結果は想定と合致
- 臨床試験は進行中。最新情報はヨーロッパ臨床腫瘍学会(ESMO)で発表予定  
[https://cslide.ctimeetingtech.com/esmo2024/attendee/confcal\\_2/presentation/list?q=679TiP](https://cslide.ctimeetingtech.com/esmo2024/attendee/confcal_2/presentation/list?q=679TiP)
- 10月に開催される第9回RSC-BMCS/RSC-SCI Symposium on GPCRs in Medicinal Chemistryで当該化合物に関する概要を発表予定



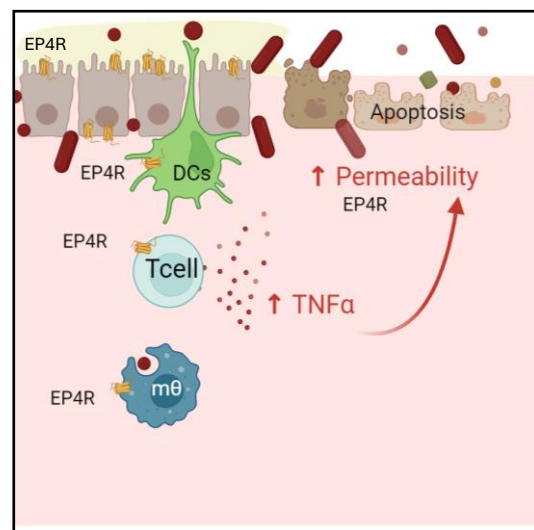
# 炎症性腸疾患 (IBD) を対象とした EP4 受容体作動薬

消化管を標的とし、IBD 患者の粘膜治癒を促進するファーストインクラスの薬剤

## 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良くても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



## これまでの結果

- 「NxWave™」プラットフォームを用いて同定された選択的EP4受容体作動薬 (NXE'744)
- げっ歯類によるIBDモデルを用いた前臨床探索研究で消化管で局所作用し選択性高く粘膜治癒に効果を示す新規候補薬を創出
- 2024年3月、健常成人を対象とした第 I 相臨床試験を開始し、単回および反復投与量漸増試験 (SADおよびMAD) を実施
- 投与は順調に進んでおり、現在6番目のSADコホートに投与中。間もなく2番目のMADコホートに投与開始予定
- 現在までに重大な有害事象は認められていない
- 2024年6月に行った科学諮問委員会では、世界各国の専門家が本剤に大きな関心を寄せた
- 現在さらなる第 I b相、第 II 相臨床試験を計画中であり、そのどちらかを2025年に開始予定



# 2024年の目標



代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル

05






















## 2024年の主な目標

- |    |   |  |
|----|---|--|
| 01 | ピヴラッツ®の売上高 <u>160億円以上</u> （薬価ベース）                           | 計画通り進捗   |
| 02 | ダリドレキサントの日本での <u>承認取得</u>                                   | 計画通り進捗   |
| 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           | 計画通り進捗   |
| 04 | <u>1つ以上</u> の価値の高い提携契約の締結し、<br>自社による第 I 相試験を <u>1つ以上</u> 開始 |  Boehringer<br>Ingelheim<br> EP4作動薬 |
| 05 | 新ブランドコンセプト、効率性、拡張性のための<br>システム・アプリケーションなどの <u>PMI投資</u> を実施 | 計画通り進捗   |

# 今後2024年中に見込まれるイベントの整理

(新規提携以外)

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)	権利再取得
✓ GPR52受容体作動薬		達成(2024年3月)	ライセンスのオプション契約
✓ 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受容体作動薬)		達成(2024年5月)	第 I 相臨床試験開始
Cenerimod		2024年半ば	オプション権行使の判断
Lucerastat		2024年半ば	オプション権行使の判断
NBI-568 (M4受容体作動薬)		2024年第3四半期	第 II 相臨床試験トップラインデータ
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)	 <sup>1</sup>	2024年下期	国内承認の可能性
ORX750 (OX2受容体作動薬)		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

<sup>1</sup> 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



ご清聴ありがとうございました



2

補足資料

06

# 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は2024年は通期で影響

(百万円)	旧そーせいグループ*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	7,327		5,393		12,720						12,720
売上原価 + 販売費及び 一般管理費	(3,039)		(4,290)		(7,329)	A			(1,619) 売上原価調整額		(11,514)
						B	(681) 無形資産の償却	C	(563) 統合関連費用		
						D			(1,323) その他		
研究開発費	(4,143)		(699)		(4,842)	D			(645)		(5,487)
その他収益	626		1		627						627
営業損益	771		405		コア営業損益 1,176						営業損益 (3,654)

M&A関連	<p><b>A</b> ピヴラッツ®の現在庫分に対して売上原価に加算。2024年第3四半期頃まで続く見込み。</p> <p><b>B</b> ピヴラッツ®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。</p> <p><b>C</b> 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</p>
その他	<p><b>D</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、株式報酬費用およびその他構造改革費用</p>

\*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)

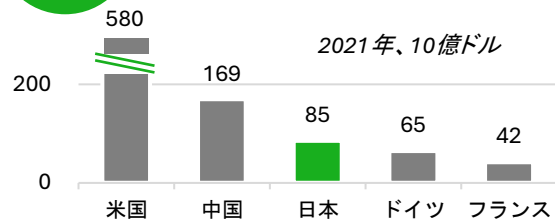
# 日本はAPACへの拡大の起点

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)

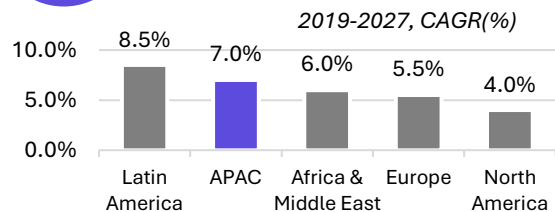


- 強固な国民皆保険制度
- 一部の競合企業が弱体化
- 新規参入者にとって魅力的な市場
- 人口が多く高齢化する社会
- 安定的でイノベーションが評価される市場

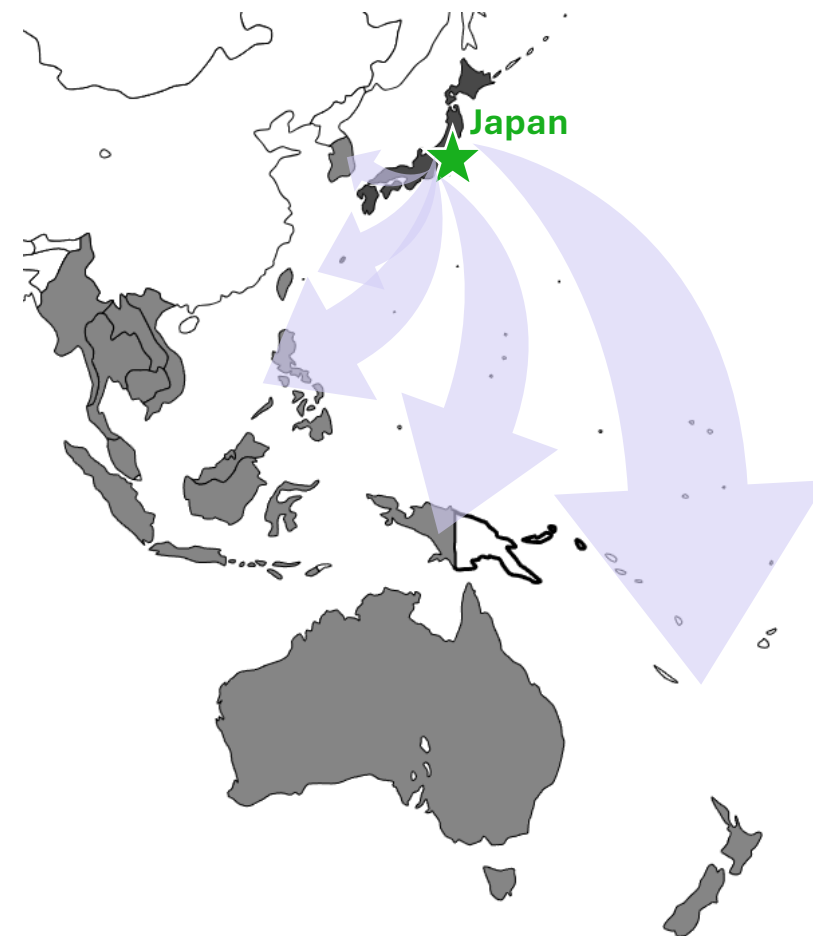
## APAC\* 世界でも最も急速に成長中する市場の一つ



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

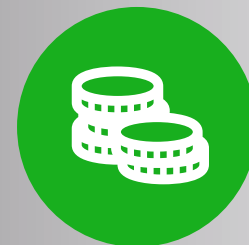
臨床試験/PMS1のハイレベルなデータ

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、より安く早い臨床試験を実施

# ピヴラッツ®

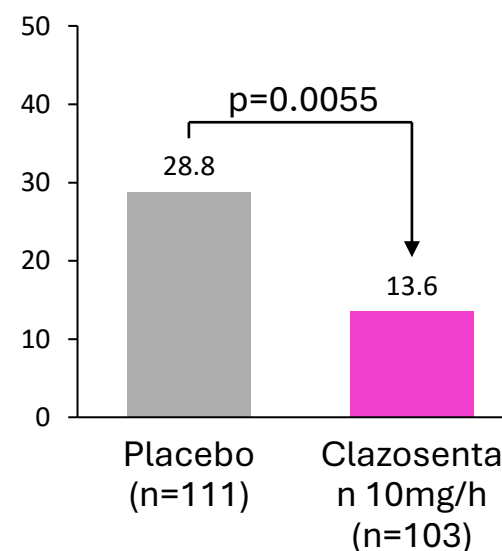
日本独自の試験で良好なトップライン結果を取得し、2022年に日本で承認

## 日本における2つの重要な第Ⅲ相試験結果<sup>1</sup>

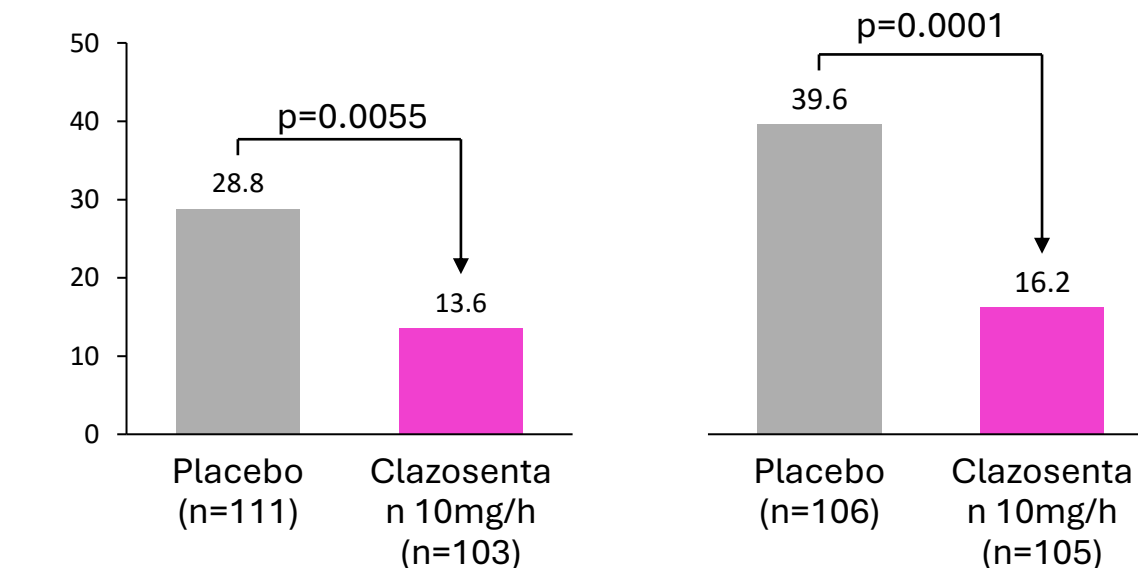
- ピヴラッツ®(クラゾセンタン)はaSAH後の患者において、脳血管攣縮に関連する脳虚血合併症と全原因による死亡率を有意に減少させた(主要評価項目)。
- クラゾセンタンは事前に計画された両試験のデータの併合解析において、aSAH後の患者におけるあらゆる原因による症状および死亡の発現に対して有意な低下を示した( $p < 0.05$ )。
- 12週目の臨床転帰の長期測定(GOSEとmRS)において、改善傾向がみられた。
- 安全性上予測できない事象も見られなかった。
- 結果はJournal of Neurosurgeryに掲載: Endo H, et al. April 01, 2022; DOI: 10.3171/2022.2.JNS212914

### コイリング試験

Event rate (%)



### クリッピング試験



ピヴラッツ®は、国内第Ⅲ相試験において、血管攣縮に関連する罹患率および全死因罹患率と死亡率を有意に減少させたaSAH後の死亡や障害を予防するために使用される、非常に意義の大きな薬

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Ⅲ相臨床試験が日本の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リング術(JapicCTI-163369;「コイリング試験」)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 - グローバルおよび日本国内のプログラム

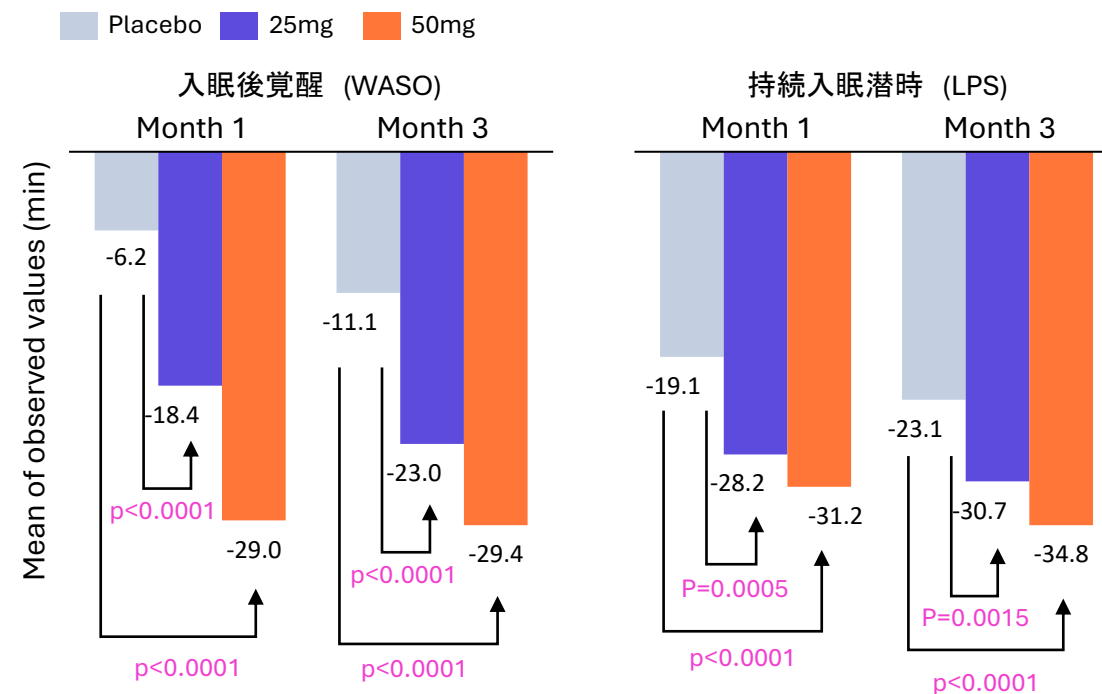
日本の第Ⅲ相臨床試験で良好な結果 - Lancet誌に掲載された米国での試験と同様<sup>1</sup>



## 世界および日本での主要な臨床試験結果<sup>1</sup>

- 成人および高齢者患者490人を対象とした日本の第Ⅲ相臨床試験<sup>1</sup>では、主要果評価項目と副次的評価項目の両方が達成され、Lancet Neurology誌に掲載された国際共同試験と同様の結果が得られた
- ダリドレキサントは、プラセボと比較して、28日後の総睡眠時間を有意に改善し(sTST、50mg投与で $p<0.001$ )、入眠潜時も有意に改善した(sLSO、50mg投与で $p<0.001$ )
- 有害事象の発生率はプラセボとダリドレキサントで同等であった
- グローバル試験において、ダリドレキサントは日中の眠気<sup>2</sup>に有意な改善を示し、患者さまは日中、精神的・肉体的な疲労感が軽減し、眠気がなくなり、より元気になったと報告された
- グローバルと日本のデータに基づき、2023年10月にPMDAに承認申請

## グローバルな第Ⅲ相臨床試験で2つの主要評価項目を達成



ダリドレキサントは、プラセボと比較して、睡眠開始後の覚醒、睡眠持続までの潜時、主観的総睡眠時間、翌日の眠気/日中機能(IDSIQの眠気領域スコア)を有意に改善

注: <sup>1</sup>Lancet Neurology誌に掲載された世界的な研究: Mignot E, et al. Lancet Neurol 2022; 21: 125–39. 国内試験(JRCT2031200452)は、ダリドレキサントの有効性と安全性を検討する無作為化二重盲検プラセボ対照第Ⅲ相臨床試験。無作為化された成人および高齢の不眠症患者490例(30.1% ≥65歳)に、ダリドレキサント50mgまたは25mgまたはプラセボを1日1回28日間投与。

# Cenerimod 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

### Cenerimod

適応症	全身性エリテマトーデス (SLE)
作用機序	選択的 S1P <sub>1</sub> 受容体モジュレーター
開発段階	第Ⅲ相
患者数	約120,000人(日本)
主な治療法* (日本)	<b>市場規模: 約300億円</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>ベンリスタ (GSK, ピーク時推定50~100 億円)</li> <li>サフネロー (AZ, ピーク時推定50~100 億円)</li> <li>プラケニル (サノフィ, 約50億円)</li> </ul>
提供価値	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>S1P<sub>1</sub>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</li> <li>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</li> </ul>

### 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"> <li>第Ⅲ相臨床試験(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</li> <li>非盲検延長試験実施中</li> </ul>
患者数	約1,000人(日本)
主な治療法* (日本)	<b>市場規模: 約300億円</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>リプレガル(ERT、武田薬品、約140億円)</li> <li>ファブラザイム(ERT、サノフィ、約100億円)</li> <li>ガラフォルド(PCT、アミカス、約46億円)</li> </ul>
提供価値	<ul style="list-style-type: none"> <li>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)</li> </ul>

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、当社はアイドルシア社に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

Idorsia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	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	第Ⅲ相	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	第Ⅲ相	
優先交渉権 および 優先拒否権	Selatogrel	P2Y <sub>12</sub> 拮抗薬	急性心筋梗塞の疑い	第Ⅲ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Ⅱ相*	
	ACT-1014-6470	C5aR1 拮抗薬	免疫介在性疾患	第Ⅰ相*	
	IDOR-1117-2520	非開示	免疫介在性疾患	第Ⅰ相*	
	ACT-777991	CXCR3 拮抗薬	発症早期の1型糖尿病	第Ⅰ相*	

<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」の定義

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」

- コア営業利益は事業の潜在的な経常キャッシュ創出能力を示す主要財務指標
- 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

+ 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(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 <sup>1</sup>	-	-	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 <sup>3</sup> (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	■	■	■	■	■	■	■
ウルティブロ®	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 <sup>1</sup>	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 <sup>2</sup>	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 <small>A Member of the Roche Group</small>	■	■	■	■	■	■	■
(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。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
<b>共同開発</b>											
KY1051 (非開示)	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	■						
<b>共同出資</b>											
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
<b>自社開発品</b>											
ピヴラツ®	ETA 拮抗薬	低分子	脳血管攣縮		■	■	■	■	■	■	■
ダリドレキサント	DORA <sup>1</sup>	低分子	不眠症		■	■	■	■	■	■	■
NXE0048149	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 <sup>2</sup>	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患		■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117567	ムスカリンM1作動薬(日本)	低分子	神経疾患		■	■	■	■	■	■	■
(非開示) <sup>2</sup>	H4 拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎		■	■	■	■	■	■	■
(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	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		■	■	■	■	■	■	■

<sup>1</sup> DORA: デュアルオレキシン受容体拮抗薬 <sup>2</sup> 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 <sub>2</sub> 刺激薬。気管支の交感神経β <sub>2</sub> 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 <sub>2</sub> 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、ドー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





## 主要拠点



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