



肥満領域パイプラインに関する会社説明会

2025年8月6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。

肥満領域におけるパイプライン進捗と戦略

肥満/慢性的な体重管理に対する 自社開発パイプラインの開示

- ✓ 過去12か月間に亘り、広範な肥満のパイプライン開発に尽力
- ✓ 7つの肥満領域でのプログラム開発 (GLP-1, GIP, Apelin, Amylin) が進行中
 - ・4つの低分子作動薬 (GLP-1, GIP, Apelin, Amylin)
 - ・1つの低分子拮抗薬 (GIP)
 - ・2つの長時間作用型プログラム (非開示)
- ✓ 当社はGLP-1受容体とペプチド作動薬との結合構造を世界初解明。次世代のベストインクラス候補開発における優位性を確保

次世代の肥満薬ニーズに 合わせた開発戦略

- ✓ 長期的な体重管理: 注射剤に続く治療選択肢、容易な用量設定等の利便性
- ✓ 肥満に関連する重大な合併症を標的: 心血管疾患、腎疾患、肝疾患や新たな適応症への治療効果の改善
- ✓ 副作用低減と治療が困難な患者への拡大
- ✓ 筋肉量の維持

PF'522がポートフォリオの変更により 開発中止を発表

- ✓ Pfizerはポートフォリオの変更 (安全性上の問題ではない) により経口GLP-1薬PF'522の開発中止を発表
- ✓ PF'522中止に伴う当社の減損影響はなく、当期業績に与える影響もない
- ✓ PF'522も含めたPfizerが発見・保有するGLP-1作動薬の開発方針について、協議を開始する予定

主なパイプライン(今後の見通し含む)



★ :25年中に患者データ公表の可能性

▨ :独占的ライセンスアウトオプション

▨ :独占的ライセンスインオプション

A : APAC* での権利を保有

J : 日本での権利を自社で保有

* 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

* NXE0039732 (EP4拮抗薬) は導出品ではないため自社品として分類。2022年に締結した臨床試験およびライセンス契約に基づき、Cancer Research UKが第 I / II a 相臨床試験の資金拠出、デザインおよび実施を担い、当社がその後の臨床開発・商業化に向け、本剤に対するこの試験結果のライセンスを保有。

肥満・慢性的な体重管理に対する広範な自社パイプラインを開示

当社は肥満領域の自社開発で7プログラムが進行中

肥満領域の開発品動向(臨床以降)

メカニズム	経口剤*	NXera 
GLP-1 ag	21	
GIP ag/ant	1	
Amylin ag	1	
Apelin ag	0	
Other	1	(非開示)

ハイライト

- 当社は経口医薬品に注力
 - ✓ 患者への利便性向上 – コールドチェーンが不要
 - ✓ 新興市場・プライマリーケアへのアクセス向上
 - ✓ 多剤併用療法の実現
 - ✓ 注射剤と比較した原価低減
 - ✓ 保険償還におけるメリット
- 当社はGLP-1、GIP、Amylin、Apelinを標的とした複数のプログラムを推進。提携交渉も進行中
- Eli Lillyとの提携で開発マイルストーン達成(金額、ターゲット詳細は非開示)。2022年に総額マイルストーン最大694百万米ドルの契約を締結



Questions?

前臨床段階の開発品: 投資とパイプライン拡大における戦略

直近の海外での大型提携は経口薬による差別化可能性を如実に反映

経口GLP-1作動薬関連提携は数十億ドル規模

買収元	買収先	主要開発品 (前臨床)	日付	一時金	総額ディール
Madrigal Pharma	CSPC Pharma	GLP-1作動薬	2025年7月	\$120M	Up to \$2Bn
Novo	Septerna	Multiple including GLP-1作動薬	2025年5月	\$200M	Up to \$2.2Bn
Merck	Hansoh Pharma	GLP-1作動薬	2024年12月	\$112M	Up to \$1.9Bn

※経口GLP-1作動薬に関する過去8カ月間の取引を記載

経口薬による肥満関連領域に与えるインパクト

- ✓ 長期的な体重管理：注射剤に続く治療選択肢、容易な用量設定等の利便性
- ✓ 肥満に関連する重大な合併症を標的：心血管疾患、腎疾患、肝疾患や新たな適応症への治療効果の改善
- ✓ 副作用低減と治療が困難な患者への拡大：高齢者、閉経後女性、サルコペニアの方を対象にした治療薬
- ✓ 併用療法：高い安全性が不可欠

次世代肥満薬は経口投与可能かつ安全性の高い製品が重要、当社は開発を主導可能な体制が構築



Locations



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



Thank you

BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS

野村：皆様おはようございます。本日は決算期のお忙しいところ、ネクセラファーマの肥満領域パイプラインに関する会社説明会にご参加いただきありがとうございます。司会進行を務めます CFO の野村です。本日、CSO 兼ネクセラ UK 社長のマット・バーンズ、そして私の 2 人で進めさせていただきたいと思います。

同時通訳がマットのパートに入っておりますので、画面、Zoom の通訳機能から日本語か英語の言語をお選びいただきますと、こちらの通訳音声聞くことができます。オフを選択するとスピーカーのオリジナルの音声聞こえるようになります。本日はすけれども、最初の 10 分から 15 分ほど投影資料に沿ってご説明をさせていただきまして、その後質疑応答させていただく予定です。質疑応答では機関投資家、アナリスト、メディアの皆様は挙手にてご質問いただければと思います。私の方で指名をさせていただきます。それ以外の皆様は、Q & A のボタンがございますので、こちらから投稿をお願いいたします。時間は限られておりますけれども、可能な範囲で、そちらにもお答えしていきたいというふうに思っております。

なお、皆様ご存知かと思いますが、当社 2Q の決算発表を明後日の 8 日に控えていますので、本日のご質問は肥満領域のパイプラインに関するものに限定させていただきたいと思っております。ご理解いただければと思います。それでは決算期の忙しい時間でもございますので、早速ご説明に移らせていただきたいと思います。

本日はすけれども、当社の取り組んでいる肥満領域のパイプラインのご紹介、そして、このご紹介に至った背景としまして、昨日のファイザー社の発表と言いますか、アップデートについてご説明をまず私からしたいというふうに思います。まずこちらのスライドにも書かせていただいております通り、実はと申しますか、弊社ですね、これまでも資料の中には小さくは書いてあったと思うんですけれども、肥満領域のパイプラインについて、社内的にはかなりフォーカスして、一年ほど前から進めていたというのが、実はバックグラウンドでございます。よくご存知の方はいらっしゃるかもしれませんが、肥満領域のパイプライン。今、GLP-1 が、とても世界的に有名になっておりますが、それをコンビネーション、あるいは単独でも使える他のターゲットというのが、5 個から 10 個ぐらい、非常に今、開発競争が盛んになっておりますけれども、そのほとんどが GPCR だというのは、実は背景としてございます。我々 GPCR に特化した、非常に強いプラットフォームを持っておりますので、ここにフォーカスしていくというのは必然だったかなと思ってますけれども、そういった形でこの開発を進めています。

本日はすね、こちらのスライドでお示ししてる、あるいはリリースでも書かせていただきましたのは、そのうち GLP-1、これは当然かと思いますが、一番有名なターゲット、そして GIP、Apelin、そして Amylin という 4 つのターゲットでございますけれども、これは非常に有名なターゲットなので、今日お示しして当然取り組んでいるよねと期待され、当然取り組んでいますというタイプのものなんですけれども、それ以外も含めまして、ここに

非常にフォーカスしていくという状況です。

GLP-1 自体はですね、すでに第 1 世代と言いますか、注射薬のところが非常に大きな市場を作っていて、これから経口薬にそれがある程度移っていくだろうというところは、皆さんと認識が同じではないかなと思うんですけれども、特に、長期的にどういうふうに体重をコントロールしていくかですとか、合併症ですね、というところ、あるいは、副作用等が出てしまう患者さんに対するアプローチあるいは筋肉量の維持ですね。ここにまつわる、関連する範囲はまだこれから広がっていくと、これ適用疾患という意味でも、広がっていくと思うんですけれども、肥満というところに絞っても、そういったところが期待できるということで、我々もぜひここに取り組んでいきたいという決意を新たにしているところでございます。

本日は、それをなんでこんな機会ですぐに発表したんだというところだと思うんですけれども、お気づきの方も多いかと思うんですが、昨日、ファイザー社が、彼らの 2Q の決算発表、そして決算説明会をしました。

そこで具体的に言及はされていないんですけれども、我々がファイザー社とずっと提携してから 10 年やってきた GLP-1 作動薬というものがあまして、'522 というふうにコードで我々呼んでますけれども。この'522 につきましてよく見ていただかないと分かりにくいんですが、ファイザー社のホームページでパイプラインのところを見ていただきますと discontinued という形でこれ以上進めないというふうに書かれておりまして。我々も今回、事前にファイザー社から受け取っておりましたので、本日このタイミングで、我々もこれを発表させていただいたというのが、ことの次第でございます。ファイザー社の公式ではございませんけれども、担当者のインタビューとして、このプログラム自体は安全性の問題で決して止まったわけではないというインタビュー記事等が Web にも出ておりますので、そこらへんはご参照いただければと思いますが、我々もファイザー社とこの'522 あるいは他のパイプラインも含めまして、今後どういう風に進められるのか進められないのか、進めるとしたらどういう風に進めるのか、というところの協議は開始する予定ではございます。本日時点で言えるところはここに限られるんですけれども、以上が起こったことと言いますか、本日の趣旨でございます。

この後、マット・バーンズの方から、我々の自社のパイプライン、肥満領域の 7 つのパイプラインについて、補足の説明をさせていただきたいと思います。それではマット、説明をお願いします。

マット：ありがとうございます。質疑応答に入る前に、まず私の方から、ネクセラが次世代の、この肥満管理治療薬でよい位置づけにいるのか、ということをお話しさせていただきます。今、野村の方から説明がありました通り、経口薬品へと寄ってきております。これは患

者の需要にしてもそうですし、実際的な面でもそうですし、それからペイヤーの圧力という点でもそうです。私たちのパイプラインはこのシフトと合致したモードとなっております。GLP-1 をターゲットとしております。GIP、Amylin、それから Apelin 受容体に注力しています。すべて低分子の医薬品ということになります。私たちは数少ないプレイヤーといたしまして、この四つのメカニズムすべてに注力をして開発をしている企業ということになります。これによりまして、現在の GLP-1 を超えた、かなり大きなオポチュニティ、それからオプションを提供できると思っております。GLP-1 に関してですけど、より競争力のある企業ということになります。ペプチド、それから低分子ですけど、低分子が約 30%を前臨床及び臨床過程の中で占めてはおりますけれど、内部の分析、特許の今後の様相というのを見てみますと、GLP-1 のケミストリーが分類できるのは 2 つに分けられると思っております。

オルフォグリブロンのリリーの分子。それから最初のファイザーの分子であるダヌグリブロンになります。このアプローチ課題に直面しているようです。それゆえに開発中止に至ったわけです。それからオーファン用ですけど、中外、それからリリーが進めているものですけど、かなり進めてはおります。ただ、未だに課題は抱えております。特に分子量が高い。それから製造コストが高く複雑である。それによりまして、最適化の余地はまだ残されているというふうに思っております。これによりまして、新規の GLP-1 作動薬のケミストリーを見出す機会が大きくある、それが差別化要因になるというふうに思っております。NxHit™ を使いまして、こちらが独自の低分子ライブラリーとなっております。それから DNA コーディングのライブラリースクリーニングも使いまして、私たちは候補薬を特定していきます。

現在臨床に入っているものから、スクリーニングをどんどん進めていきます。それから、皆さんご存知だと思いますけれど、低分子を追求するアドバンテージは非常に明確だと思っております。より患者さんの利便性が高い。それから、コールドチェーンの注射剤が必要でない。それからプライマルケアに対するアクセスがあるということがあります。それから多剤併用療法の実現ができるという点も挙げることができます。ですので、患者層を今後より差別化できるようになるというふうに思いますし、異なる分子を組み合わせ、特定の患者層に提供していくというのが鍵となる点であるというふうに思っております。それから保険償還におけるメリットや、原価低減が図れるというようなメリットがあります。これが私どもの取り組みを簡単にまとめさせていただいたこと、ということになります。それから最後になりますけれど、引き続き我々のパートナーであるイーライリリーとの代謝性疾患における強力な前進があるという点も付言させていただきます。

最大 7 億ドルにいたるコラボレーションであるというふうに思っております。さらなる成功をこのコラボレーションで得ていきたいというふうに思っておりますし、またネクセラとい

たしまして、他の治療領域にも注力していきます。消化器疾患、それから免疫および神経領域なども注力をしていきたいというふうに思っております。

それでは質疑応答に移りたいと思います。野村さん、よろしいでしょうか。

野村：それではここから質疑応答に移らせていただきたいと思います。機関投資家、アナリスト、メディアの皆様は挙手ボタンを押してお知らせください。私よりお名前をお呼びいたしますので、その後ミュートを解除し、ご発言いただければと思います。

通訳を介しておりますので、質問はややゆっくり手短にお願いできればと思います。それ以外の皆様、Q&A のボタンからご投稿いただきますので、後ほど時間の許す範囲でご回答させていただきますと思います。それでは最初のご質問者に移りたいと思います。JP モルガン証券 若尾様、JP モルガン証券 若尾様、ミュートを解除して発言お願いいたします。

若尾様：はい、ありがとうございます。JP モルガン若尾です。

野村：はい、聞こえております。

若尾様：今回の件は、まあちょっと残念ではありましたが。これで多分、ファイザーとこの GLP-1 の関連の提携は、化合物はあのオンゴーイングなものではなくなったと理解してよろしいですかというのと、これを踏まえて GLP-1 に関して、これまでファイザーとやっている所以他社と提携ができなかったと思うので、ここにも一応プログラムが御社で GLP-1 があるということなので、これが導出可能になってくると理解してよろしいですか

野村：はい、ありがとうございます。こちらの質問ですね。マットの方から回答したいと思います。マット大丈夫ですか。

マット：どうもご質問ありがとうございます。非常に良いポイントを突かれた質問だと思います。おっしゃった通り、これは独立した、ファイザーのコラボレーションとは独立したもので、完全に当社が所有している現在のプログラムであります。ですから、ライセンスングアウト、これらの導出を考えることができます。適切な時期が来れば、将来的に導出は可能になります。どうもありがとうございます。これでお答えになりましたでしょうか。

野村：ありがとうございます。あの若尾さん、ちょっと私の方で補足させていただきますと、ファイザー社とはですね、非常に多くの、実はあの化合物を GLP-1 に関しても、これまでもやってまして、なので、1 回ロティグリプロンが、ちょっと失敗した時に、すぐこの'522 が後から出てきたっていう背景があるんですけども、これで完全になくなったかということ、まだちょっとファイザーとそういうコミュニケーションは実際していないので、ここは

まだ、もしかするとあるかもしれないですが、我々は今のところはあまりアクティブなものはないかなと推測はしてますけれども、まだ最終確認ができてない状況です。ただ、少なくともご存知の通り臨床に上がるようなものはないということだと思います。一方で、GLP-1はファイザーとしかできないと思ってたのに、急に出てきてできるんですねっていうご質問を、私も朝も受けていたんですけども、ここはファイザー社との契約にタッチするところなので、私も非常に言葉を濁してお答えしなきゃいけないのが心苦しいんです。

結論から言いますと、これを我々が自分たちでやって、若尾さんがおっしゃったようにライセンスすることができます。何と申しますか、全ての契約にはですね、永久に続く契約ってありませんので、ある程度期間設定というのは当然ジェネラルな話でされますから、そういったところを背景として思い巡らせていただくと、多分間違っていないんじゃないかなと思います。そのような背景で、結論から言うそうですね、すいません、まわりくどいですが、YESということになります。お答えになっていますでしょうか。

若尾様：なので、何かしらリスクが伴うということでもないってことですね。その契約は。わかりました。そして御社のこの GLP-1 のプログラムっていうのは、今はどういう段階なんですか。もう化合物の最適化も進んでるっていう状況ですか。もう少し何かカラーを教えてください。

野村：はい、ここのところはマットから、お答えしたいと思います。

マット：どうもありがとうございます。

今、非常に忙しくやっております。先ほど申し上げたように、創薬の段階でありますので、差別化されたケミストリーを最適化し、特定するところです。先ほど言ったように、パテントを見ていきますと、これは真ん中の方に書かれていますけれども、80%ぐらいのパテントでは、この両方、前臨床、臨床で Danu-like です。で、20%が Orfo-like なんです。ですので、非常に真のオポチュニティがあります。差別化されたケミストリーで、つまり一定のこの2つのケモタイプに関わるリスクを回避することができる可能性があると思います。

現在創薬の段階にありますので、最適化された、しかしながら差別化されたケミストリーを特定することができるようにやっています。我々が狙っているのは、最初の候補薬をこのプログラムから創出していくことであります。来年の下期までに特定することを目指しています。

若尾様：ベースとなる骨格が Orfo-like でも Danu-like でもないよって、そういう理解をしておいていいんですか

マット：はい、おっしゃる通りです。

若尾様：ありがとうございます。以上です。

野村：若尾さん、ありがとうございました。それでは次のご質問者様に移りたいと思います。
シティグループ証券 山口様、シティグループ証券 山口様。

山口様：はい、聞こえますか。

野村：はい、聞こえております。

山口様：こんにちは。シティの山口です。おはようございます。ロティグリプロンの時もそういう話があったと思うんですけど、今回も含めてなのですが、ファイザーが今までやってきたものは中止になっているわけなんですけれど、そのアセットを、過去他のプログラムでもそのようなことがありましたが、御社がそこを何とか引き継いで、ものとして問題がないのだったらやっていくみたいな話があったかと思いますが、今回はそういった動きというのは、今後検討されることはありますか。

野村：こちらマツの方からお答えをしたいと思います。

マツ：‘522を転用するのかということに関しましては、プレスリリースにも記載させていただきましたけれど、この点ファイザーと協議させていただきます。ただこの点に関しまして、今の段階で詳細をお話することはできません。もちろんまだ、このプロセスの初期の段階にあります。まだ開始を本日発表させていただいたばかりです。ただ当然検討はしていきます。それから、ご存知の通り、私たちはこうしたこれまでのコラボレーションを取り込んでいくという実績があります。その最も成功したものはアラガンとのプログラムであると思います。この化合物を、資産を取り入れたということがあります。その後更なるディーをニューロクラインと行ったということがあります。これが成功したと思っております。ですので、この領域における実績はあると思っております。でも、だからといって必ずそうなると言えるわけではないです。この点、ファイザーと協議させていただければというふうに思っておりますけれど、野村さんの方からもし追加があったらお願いします。

野村：特に追加ありませんが、山口さんすいません。ちょっとまだ協議の初期段階なので明確なお答えにはなっていないと思いますが、可能性はありますが、ちょっとまだ考え中という状況だとしてご理解いただければと思います。

山口様：はい、わかりましたありがとうございます。以上です。

野村：ありがとうございます。それでは次の質問者様に移りたいと思います。野村證券 松原様。野村證券 松原様。ミュート解除してご質問をお願いします。

松原様：はい、野村證券松原です。聞こえますでしょうか。

野村：はい、聞こえております。

松原様：はい、ありがとうございます。今回新しくこの六品目開発するということで、臨床試験に入るタイミングっていうのはどれぐらいを見ているかっていうのと、あと競合と比較して、先ほど低分子の優位性っていうのがお伺いいたしましたが、少し開発は遅れていると思いますので、この競合と比べて優位性、もう一度何かありましたら伺いできますでしょうか。

野村：はい、ありがとうございます。こちらも研究開発なので、マツトの方から回答させていただきたいと思います。

マツト：はい、もちろんです。あのスライドお願いします。どうもご質問ありがとうございます。最初に強調したいのが、競合、この分野における競合で、このチャートでうまく表現できていると思います。GLP-1 以外に、実際に競合はそれほど激しくないわけです。GIP Ag/Ant、Amylin、Apelin を見ても、臨床開発の候補としてはそんなにたくさんの競合があるわけではないので、やはり機会はあると思っています。

ここで進展させることがこの領域ではあるというふうに思っています。GLP-1 については、状況はもちろん違っています。もっと競合が激しくなっている分野であります。先ほど申し上げたように、ほとんどの競合は2つのケモタイプ、オルフォ、それからダヌグリプロンに焦点を当てているわけで、このケモタイプにおいては、リスクがあると思いますので、ケモタイプ違ったものにフォーカスを当てることによって、ベストインクラスのものを出すことができる。しかも差別化されたケミストリーを持ったものを開発できると思っています。最後になりますけれども、臨床開発に関しての質問ですけれども、タイミングですが、先ほど申し上げたんですけれども、最初の候補薬がこのプログラムで2026年の下期に出てくるだろうと思っています。12ヶ月後ということになります。

もちろんそれは前臨床の候補物質でありまして、その後一年から一年半ぐらい経ったところで、臨床段階における候補薬物を特定できると思っています。これでお答えになりましたか。

松原様：はい、ありがとうございます。私からは以上です。

野村：ありがとうございます。それでは次の質問者様に行きたいと思います。SMBC 日興証券 和田様、日興証券 和田様。ミュートを解除してご質問お願いいたします。

和田様：SMBC 日興証券和田です。ありがとうございます。聞こえてますでしょうか。

野村：はい、聞こえております。

和田様：ありがとうございます。まず GLP-1 のところの化合物の話ですね。御社の化合物、少しか、新しい骨格ってお話なんですけど、低分子の創薬ってなかなかそのこのケモタイプ違うもの、母骨格違うものを取るって難しいと思ってるんですけど、どうやってその御社はその GLP-1 の新しいケモタイプのものを創出してきたのか。これって多分他の GPCR 創薬にも関わるところかなと思うんですけど、例えばよく言われているのは、その FED フラグメントベースのドラッグデザインしてみたりとか、いろいろチャレンジはされてるんですけど、なかなかそれとうまくいってないような印象があるんですけど、このあたりでどうやってらっしゃいますか。

野村：非常にあのいいご質問だと思います。これはマットからお答えしたいと思います。

マット：ご質問いただきまして、どうもありがとうございます。本当に素晴らしいご質問をいただきました。本当に素晴らしい質問であったと思っております。私たちのプラットフォームをより詳細に、またいかに成功しているのかというお話いただける機会を頂戴したと思っております。

フラグメントベースのスクリーニングを行ってはおります。メインのスクリーニングの取り組みとして注力をしております。右側に記載させていただいている通りです。この NxStaR™ のタンパク質ですけれど、こちらは安定化、あの GPCR ですけれど、細胞膜からこれを活用して、DNA のコードドライブラリースクリーニングで用いております。それから、アドバンテージといたしまして、セルベースの環境ではないと。ですので、私たちが得るヒットというのがより具体的なものとなると言えます。ですので、私たちのプラットフォームがそのようなオプションを手に入れることができる。DNA、それからエンコードライブラリーを他者とは違う形でできるというのがまず 1 点目。

それから 2 点目ですけれど、NxHit™ の戦略です。何回か、これまでの投資家様とのセッションで申し上げてきておりますけれど、過去 15 年にわたりまして、私たちは数千に及ぶ化

化合物を生み出してきております。すべて GPCR に基づいております。私たちは GPCR 志向の会社であるからです。4 年ほど前、私たちは、こうしたすべてのケミストリーをまとめるということに投資をしております。これまで作り上げてきたものです。そして、それを取りまとめて、具体的な化合物のライブラリースクリーニング向けのものとしています。

そして、新たなケミストリーを同定する GPCR 向けのものとして行っております。私たちのライブラリーですけど、4 万 5 千ほどの化合物が含まれております。そして、これをさらに増やしていきたいというふうに思っています。このライブラリーをルーティーンに使いまして、プログラムを開始するときに利用しております。と申しますのも、非常にわかりやすい形で、非常にフォーカスの取れた GPCR の化合物を見ることができるからです。

それから非常に生産性高く、新規のヒット化合物を生み出すことにもつながってきております。非常にチャレンジングな GPCR においてもです。コラボレーションの結果というものもありますし、また内製で行っているものもありますけれど、異なるケミストリーをこのような形でこれまでも取り得てきております。ですので、非常に新規のケミストリーのリッチなソースとなっております。このケミストリーをひとたび手に入れば、バーチャルスクリーニングも行っております。これも全ての GPCR のストラクチャーの生物学の知識に基づいて行っております。

プレスリリースでも記載させていただきましたけれど、私たちは初めて GLP-1 の構造解析を行っております。そのペプチドとともにです。ただ GLP-1 で私たちが公表した唯一の構造というわけではないです。これまで異なる 60 以上の GPCR を発表しております。これだけ豊富な知識を、こうしたストラクチャー全域に対して持っているということは、それを基にしてモデリングができるということになります。それゆえにバーチャルスクリーニングが可能となっております。インシリコンのコンピュータースクリーニングが可能となっているわけです。こうした手法をすべて駆使しております。そして様々なケミストリーを最良の形で同定する機会があるというふうに思っております。だからこそ、私たちは新規のケミストリーを同定することができているわけです。こうしたツールを持っているからゆえのことだというふうに思っております。これでお答えになりましたでしょうか。どうもありがとうございます。

和田様：ありがとうございます。よく理解しました。あともう一点、Apelin の作動薬ですかね。えっと、開発されているのかなと思うんですけど、これちょっと確かに競合もあんまりないのかなと思っていて。えっと、ポジショニングですね。筋力増強のところに关わるみたいなのところも、なんかこう見ていると調べてると出てくるんですけど、どういったところのポジショニングを狙っている化合物になるかお伺いできますでしょうか。

マット：素晴らしいご質問いただきました。

おっしゃる通りです。Apelin で Bioage が取り組んでいるものがあります。まだこのフェーズにあります。ここでも臨床候補薬というのがあります。ただ最近（24 年 12 月）開発中止となっております。安全性の懸念が生じたからです。ですので、現在はあまり競争がこの領域ではないという状況となっております。ただ、この早期の臨床試験、この分子で行われていないものから判断するに、Apelin のアゴニストでメリットがあると思っております。筋肉の保護およびその維持でベネフィットがあるというふうに思っております。

先ほど申し上げた点といたしまして、患者さんの代謝性疾患、それから肥満のランドスケープ自体が今後ともさらに進化していきます。そして、それがフラグメント化、ないしはあのような患者グループがどんどん分かれていくことにつながるというふうに思っております。患者さんがどのような問題を抱えているかによって、どんどん枝分かれしていくというふうに思っております。ですので、高度肥満の患者さん、例えば BMI30 以上ですとか、ないしは合併症を持っている、例えば血管疾患ないしは肝臓疾患を持っているような患者さん、ないしは高齢者、サルコペニアを持っているような患者さん。こうした GLP-1 のモノセラピーなどで、例えば体重減少があった場合、その一部が筋肉量の低減につながる。そして、より虚弱な患者さんにとりましては。こうした化合物を Apelin のアゴニストなどで組み合わせ、こうした患者さんに提供するということが重要となってきます。だからこそ、非常に広いターゲットに注力をしているわけです。今後こうしたものを組み合わせるで、特定の適切な患者さん向けに提供していくということが、今後鍵となってくるというふうに思っております。

ノボノルディスク、リリーがやっていることも非常に重要ではないか、類似しているのではないかと思います。彼らも様々なターゲットを一つの化合物で統合しようとしております。必ずしも一つの化合物でということではないですけど、低分子で組み合わせることができるようなもの、そしてそれをミックスマッチして、特定の患者集団向けに行っております。これでお答えになれば幸いです。

和田様：ありがとうございます。以上です。

野村：和田さんありがとうございます。1 個だけちょっと Apelin につきまして Q&A の方でもいただいてましたので補足しますと、マットが今十二分にご説明をしたと思うんですけども、我々実はこのターゲットはかなり昔から注目していたターゲットでして、覚えていらっしゃる方がいるかもしれませんが、ペプチドで実は以前一度やろうとしたターゲットになります。その時はターゲット疾患も全然違ったんですけどもターゲットに関するノウハウ

と言いますか、ずっと蓄積してきたものですので、そういったところが、今この Apelin のところの取り組みにも生かされていると思っていただければな、というふうに思います。ちょっと一点だけ Q&A のテキストでいただいたご質問に対するお答えも含めて補足させていただきました。

それでは次のご質問者様に行きたいと思います。ジェフリーズ証券 山北様。ジェフリーズ証券 山北様。ミュートを解除してご発言をお願いいたします。

山北様：ジェフリーズ証券の山北でございます聞こえておりますでしょうか。

野村：はい、聞こえております。

山北様：ありがとうございます。2 つお願いします。御社のプレスリリースを拝見すると、年間売上高がこの肥満ポートフォリオにより 1000 億ドルを超えると予想されると、かなり大きめの数字が書いてあるんですけども、これはもうちょっと競合状況などどう加味したか、この数字を載せた意図など、もう少し教えていただけますと幸いです。

野村：はいありがとうございます。これはおっしゃる通りかなり大きいと言いますか、これ全体感の数字ですので、多分ここにご出席の皆様はこの肥満領域が非常に注目されているということはもう十二分にご理解いただいているとは思うんですけども、そうでない方も、読まれる方にはですね中にはいらっしゃるかなと思ひまして、そういった中で非常に大きなマーケットですよということを単にこれ述べただけでございます。

山北様：わかりました。ありがとうございます。2 点目ですけれども、リリーさんと提携している肥満、代謝疾患のプログラムもあると思うんですけども、こことカニバリズムが生じる可能性、リリーさんとの関係性に何か影響する可能性っていうのは、今後考えておいた方がいいことありますでしょうか。

野村：はい。これも一度私からお答えして、マットから補足があればと思うんですけども、おっしゃる通りでして、リリーさんとはリリーさんで、先日も発表させていただいた通り、マイルストーンの一つのターゲットについて達成し、我々これからももう複数のターゲットに対して同じような進捗があるんじゃないかと期待してますけれども、ここで挙げさせていただいているターゲットはリリーさんとはやっていない、カニバラないものを自社でやっているということです、原則は我々やっぱり一つのターゲットは一つの会社さんと独占的にですね、アゴニストとアンタゴニスト違うので、そこは分けるんですけども、というのが原則です。

GLP-1 に関してはファイザーさんですけど、先ほど私がご説明した通り、今回はそういう文脈ではないですが、他のターゲットについては引き続きそうなりますので、ここにあるターゲットは我々がやっていると。逆に裏を返すとですね、ここに書いていないものについては、もしかするとリリーさんとやっているかもしれない。皆様も有名なもので、この中にちょっと抜けてるなと思われるものがあるかもしれませんけれども、そういった可能性もあるというふうにご理解いただければと思います。あとマット、何か補足ありますか。

マット：はい、ありがとうございます。非常にいいお答えだったと思います。説明の仕方が良かったと思います。でも、繰り返し言ってもいいかと思います。我々がここで挙げているプログラムは、差別化された、そしてそれぞれのファイザーやリリーと共同でやっているもとは独立しているものなので、これはもう 1 回繰り返してもいいと思います。将来的にリリーがもしかしたら我々にとってこれらのプログラムでやりたいということであって、協議をしたいということがあれば、もしかしたらそういうことを将来のどこかの時点でやりたいと思うかもしれない。しかし、我々の意図、そして今日のアナウンスメントにおいては、これらは今のところ完全に我々が所有しているプログラムでありまして、我々としては、大きなバリューをこれらのプログラムで創出していきたいと思っています。

なぜかという導入の活動をこれまでモニタリングをしておりましたけれども、ディールのバリューが導入で、これらのアセットで、前臨床のプログラムであったとしても、早期の臨床の段階であったとしても、これらのディールは 1 億から 3 億 5000 万ドルぐらいのディールのバリューがあるわけで、非常に大きなポテンシャルがあると思います。さらに、これらのプログラムでバリューをなぜかという、これ完全に所有しているプログラムでバリューを生み出すことができると思います。その後になってからパートナーリングを考えてもいいかもしれません。しかし、リリーはもしかしたらやりたいと思うかもしれません。このフェーズでの成功に関心を持ってやりたいと思うかもしれません。どうもご質問ありがとうございます。

山北様：大変よくわかりました。ありがとうございます。私からは以上です。

野村：ありがとうございます。それでは次のご質問者様に移りたいと思います。バンクオブアメリカ証券 豆ヶ野様。ミュートを解除してご発言いただけますでしょうか。

豆ヶ野様：ありがとうございます。BOA 証券の豆ヶ野でございます。質問の機会ありがとうございます。私から 2 つですね、質問させてください。1 つ、GLP-1 の作動薬なんですけども、今回残念な結果になりましたけれども、御社の臨床での、このプロジェクトに対する自

信に関してですね、お伺いしたいと思うんですけども、プレクリニカルからそのクリニカルに行くフェーズはかなり強いというのは分かりますし、結構どんどんものが出てくると思うんですけども、その認証での評価っていうのが、結構ロティグリプロンもそうなんですけど、立て続けに残念な結果になっていて、今回の結果はどのように受け止めてらっしゃるのか、まずお聞きしたいなと思います。ロティグリプロンに関しては安全性でしたし、今回はファイザーの戦略的な問題ということなので、御社にとって、そんなに気にしてないということなのか、臨床的にはまだまだ自信を持ってるということなのか、それとも何かプレクリニカルの評価と臨床での評価、御社の中でちょっと乖離があると思ってらっしゃるのか、そのあたりですね、教えてください。お願いします。

野村：はい、ありがとうございます。こちらをマットの方からお答えさせていきたいと思います。

マット：ほとんどの質問、ちゃんとメモを取れたと思っております。もし答え忘れていることがあれば、野村さんの方から補足してもらえればと思います。まず質問として、これまでのファイザーとの関係、それから今回の開発中止、それからどの程度、私たちは自信があるのか、私たち自身のプログラムとして、あの臨床プログラムとして進めていく実践度に関して、いくつか申し上げたいと思います。

まず一つ、私たちみんなわかっている点といたしまして、ターゲット関係の忍容性なしはGLP-1 関係の有害事象がある。これはしっかり文書化もされている。様々な、例えば消化器系であったり、吐き気であったり。そしてこれらがさらなる慢性的な問題とつながりうるというふうにも思います。それから、より具体的な安全性の懸念、特定の化合物に関してというのは、ターゲットというよりも、個々の化合物関連のものに関してですけれど、様々な前臨床でできるテストがあります。そして、リスクを低減することができると思います。こうした安全性の懸念に対処するため、できるテストはあると思っております。私たち、それから他社もこうしたテクニックを駆使いたしまして、そうしたリスクを最低限化しようとしております。完全にリスクを排除するということを前臨床のテストで行うのは難しいとは思いますが、ただ最善を尽くして最小化に努めたいとは思っております。安全性の懸念を回避する特定の化合物のクラスに関するものを回避するのは、これまでとは違う、差別化されているような、化合物を見るということです。それこそがまさに私たちの戦略といたしました。ケミストリーの最適化を図っているわけです。これがやはりこのリスクに対処する最良の方法の一つではないかと思っております。ケミストリーとして、同じような安全性の懸念がないものというのをできると思っております。すべてフェーズ3にあるものがあるって、そのオルフォグリプロンでは、この化合物では同じような懸念がないからです。ですから、このようなアプローチも可能であるというふうに思っております。ただ、やはりこ

のリスクを最小限にするにはケミストリーを特定して最適化する、それも異なるケミストリーであると異なるプロパティを持つものだと思っております。これですべてお答えになっていますでしょうか。

野村：補足をさせていただきますけれども、多分、豆ヶ野さんのご質問は、その臨床に入った時に結構こける率が高いんじゃないかと。平たく言うと、そういうことだと解釈はしたんですが。

結局ですね。今回のコンパウンドに関しては、やっぱりファイザーがデザインをしているんですよ。それが良い悪いという話ではなくて、ファイザーとのあのコラボレーションというのは極めて特殊なコラボレーションで、我々がヘプタレスを買収してから最初にやった、このタイプのコラボレーションですので、コンパウンドはもう我々のものではないということで、そこでうまくいかなかったという非常に残念ではあるんですけども、我々の社内のコンパウンドの作り方とは少し違うところもあるのかなと。ファイザーのプロセスを見たわけではありませんが、少しちょっと違う文脈のコンパウンドだと思っています。

一般的に我々のアプローチというのは、当然ストラクチャーに基づいて精密な化合物を作ろうとします。もうちょっと具体的に言いますと、おそらくより少ない容量で同じぐらいの切れ味のものができるっていうのが、よくある我々のメリットでございまして、これが一番多分如実に出ているのが、おそらくセンテッサさんと組んでいるオレキシンですね。オレキシン2 アゴニストに関しては、これ別に他の化合物が違っていると申し上げてるんじゃないですけど、センテッサさん、かなり PKPD のデータ出されているので、対外的に。そういうのを見ていただくと、我々の化合物の特徴みたいなものがわかるし、おそらくそれは成功率という意味でも臨床的にはですね、本来的にはこれは上がってくるものだろうというのはご理解していただけるんじゃないかなと思う一方で、これもよくよくご理解の通りですけども、その切れ味が良くて少なくても同じぐらい効く、なので副作用も少ないかもしれないみたいなものだけが臨床での優位性では当然ないので、そもそも競合が多すぎましたとかですね、ターゲットが間違ってしまったとか、いろんな理由で臨床の中ではですね、やっぱり化合物が落ちていってしまうんですよ。これはもう我々のテクノロジーでカバーする範囲ではなくても、制約という、多分おそらくプロセスの宿命かもしれないんですけども、そういったところですので、ちょっと我々の中です、まだ結果をですね、クリアにお見せできてないところは心苦しいんですけども、成功率は極めて実際のところはテクノロジーに比べると高くなるはずだというふうに思っています。というところをちょっと補足させていただきます。

豆ヶ野様：なるほど、わかりました。ありがとうございます。2点目なんですけども、今回、

他のあのメカニズムでも開発を進められるプログラムをご紹介いただきましたけども、こちらはそのどの段階まで、その自社で開発されるご予定なのか。他のプログラムと同じような自社プログラムと同じような形で進められるのか。ちょっとそのあたりの中から教えていただけますでしょうか。よろしくお願いします。

野村：ありがとうございます。これもマツ答えられますかね。

マツ：ありがとうございます。最低限といたしまして、私たちの意図は少なくとも前臨床の候補段階までには持っていきたいというふうには思っております。これらの化合物にさらに投資をして、臨床化入りさせるかどうかというのは、その案件次第、それから状況次第ということになるかと思えます。ですので、まず環境がどのようなのかというのを評価して、それから投資、それから開発費がどの程度であるかというのを評価した上で、臨床化入りさせるかどうかというのを考えます。それから、それをする事で、どの程度の付加価値があるのかというのを考えていきます。

その評価を行い、そして化合物を臨床化させることもある。それから、そこでやめるものもある。パートナーとすることもあるかもしれない。前臨床の候補に対しまして、ケースバイケースで判断をしていくということになります。その時が来たら、そのような評価をするということです。で、現在、私たちの意図といたしましては、でき得る限りこれらのプログラムを維持する。このプログラムで、少なくとも前臨床の候補薬として価値を創成したいと思っております。そして、願わくはその先に進められればというふうに思っております。

野村：かなりケースディペンデントだという話です。

お答えとしてはその通りなんですけれども、ちょっとこの領域が少し他と違うのは、これまで我々は前臨床ぐらいまでやって、それでアップフロントが10ミリオンとか20ミリオンで、臨床までやるともう少しいって、ベーリンガーの契約だと、100ミリオンぐらいですかね。というパターンで見ていたんですけれども、この肥満の領域は多分皆さんよくご存知の通り、かなり一般的な相場というのが通じないというか。前臨床でもめちゃくちゃ高くなるディールを多分いっぱいご覧になられてると思いますけど、最近、そういうのが起こり得るので、我々としてどの段階までっていう通常の投資対リターンの相場観を、今頭にそれほど描けないというか、業界的に描けないんじゃないかなと思ってまして、そういった意味でいきますと非常にアーリーでもいいオファーがあれば当然考えますし、ただ基本的には自分たちで臨床まで進めていくっていうのが基本線でありますので、我々の今の。そういったことで少しケースバイケースという答えになったんですけれども、ちょっと背景だけそんなところでご理解いただければと思います。

豆ヶ野様：はい、ありがとうございました。

野村：はい、ありがとうございました。他にご質問られる方いらっしゃいますでしょうか。なければ、少しですね、Q&A を書き込んでいただいた皆様ありがとうございました。多分会話の中で大部分がですね、すでに語られたところもあると思うんですけども、一点ですね。研究開発費、これですね、どのぐらい使うんでしょうか上がる可能性があるんでしょうかというご質問はお答えしてなかったと思います。

これについて、マットの方から最初にお答えさせていただいて、私も少し補足したいと思いますが、マット、最初にコメントもらえますか。

マット：はい。ありがとうございます。いい質問です。それほど研究開発費が上がるとは思っていません。この特定の発表、この広範なこのポートフォリオの肥満症領域における開発によって大きく上がると思っていません。しかし、どのようにやっているかという、バジェットの管理を適切にやって、そしてそれに基づいての予算管理をきちんとやっていくということです。

どういうことかという、最初に比較的私たち小さな会社ですから。しかしながら、大きなポートフォリオプロジェクトがあります。インハウスでも、それからパートナーとも組んでやっています。ということは、これらのプログラム、マネージを非常に慎重にやらなければいけないということです。リソースの視点に基づいて、またバジェットの視点からも慎重に管理しなければいけないということ。それから小さな会社であるということのメリットの一つは、フレキシブルであることができる、リソースや、また、バジェットにおいても柔軟性が持てるということです。そこで戦略的な投資を新しい分野にするという決定をしております。つまり、リソース、それからバジェットを適切なレベルでその新しい分野に積み込むことができるということで、我々の研究開発費を、全体を犠牲にすることなくマネージすることができるということです。まとめて答えますと、このプログラムを我々の既存の R&D コスト内でマネージすることができるはずだということです。野村さん、お願いします。

野村：マットからもお答えした通りなんですけども、これでスペシフィックに R&D コストが増えるとも思ってないですし、まあ R&D コストはですね、また 2Q の時にでも少しアップデートさせていただきたいと思いますが、適切にマネージを当然していくものですので、これでどうこうというのはあまりありません。特に、お金がかかるのは、皆さんご存知の通り、臨床のフェーズになりまして、今 3 つの臨床が我々の中で走っていて、その中で自社でお金出してるのは 2 つですけどもその進み具合で、さらにそこがピークを超えるかどうかというところが研究開発費には一番効いてきますので、繰り返しになって申し訳ないですけども、これで研究開発費が今増えるとかですね、いっぱいあるからいっぱいお金がかか

るんだろーというのは、それはそうなんですけども、ステージによりますので、今の段階のステージでは外から気にしていただくような水準化には当然ならないなというふうに思っております。

それではですね、他社さんの決算もあると思いますので、今日はこちらで質問の方は終わらせていただきたいと思います。本日お忙しいところ説明会にご参加いただきましてありがとうございました。肥満領域のパイプラインに関する会社説明会これで終了させていただきます。ご参加いただきましてありがとうございました。