EXTERNAL
NON-CONFIDENTIAL

コーポレートプレゼンテーション

2024年11月 | 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。

目次

01 事業概要
02 戦略ロードマップ
03 パイプライン
04 日本とAPACにおける事業
05 創薬プラットフォーム
06 最新の連結業績
07 補足資料

事業概要

01

日本から世界にイノベーションを届け日本発の国際的なリーディングバイオ企業となる

英国での最先端のNxWave™プラットフォームと、日本の最も効率的な開発・商業化チームを保有

ミッション

最先端のテクノロジーにより、画期的な医薬品をいち早く届ける

ビジョン

日本から世界にイノベーションを届け、日本発の国際的なリーディングバイオ企業となる

コアバリュー

- 患者さま第一
- イノベーションとチームワーク
- 本質的な課題への集中
- 迅速かつ大胆な決断
- オペレーショナルエクセレンス

ネクセラファーマの概要

最先端の技術を駆使した革新的な医薬品により、患者さまの人生をより良くしていく

最先端のサイエンス

GPCR創薬、構造ベース創薬の世界的リーダー

GPCRに特に注力
— 375以上の分子構造を解明

デザインによる創薬

30以上のプログラムが進行中

- 中枢神経 39%
- 消化器 33%
- 免疫 9%
- その他 18%

実臨床での効果

日々患者さまの命を救っている

15,000名以上の患者さまが当社製品のピヴラッツ®を処方されており、そのほかにも4製品が提携先から販売されている

- TSE: 4565
  東京証券取引所プライム市場
- 350名以上の従業員
- 世界中で5つの拠点
  東京、ケンブリッジ、ロンドン、ソウル、バーゼル
- 継続的な収益
  450億円以上の現預金（2023年12月末時点）

グローバルな組織

日本・英国・韓国・スイスにまたがり350人以上が働く

ネクセラファーマ株式会社
（旧そーせいグループ）
従業員数 | 約60人

Nxera Pharma UK（NPU）
（旧ヘプタレス社）
ケンブリッジ | 約170人

研究・創薬と早期臨床開発

- NxWave™–SBDD プラットフォーム
- 創薬
- トランスレーショナルメディシン
- 早期臨床開発
- 事業開発

ネクセラファーマジャパン株式会社（NPJ）
（旧イドルシアファーマジャパン・株式会社そーせい）
東京 | 約140人

医薬品開発と商業化

- 臨床開発
- 薬事
- 製造販売承認取得
- 販売（直接およびパートナー経由）

Nxera Pharma Korea（NPK）
（旧Idorsia Pharma Korea）
ソウル | 約7人

医薬品開発と商業化

- 臨床開発
- 薬事
- 製造販売承認取得
- 販売（パートナー経由）

迅速な決断を可能とするマネジメント

取締役

田村 眞一
取締役会会長
Genentech Fujisawa

クリス・カーギル
CEO
KPMG J.P.Morgan

遠山 友寛
法務
ASSOCIATES

ロルフ・ソダストロム
財務
pwc BTG

デビッド・ロブリン
臨床開発
Pfizer BAYER

加賀 邦明
臨床開発
Mitsubishi Chemical Holdings

富田 英子
薬事
AstraZeneca Eisai Bristol Myers Squibb

永井 智亮
コンプライアンス
NOMURA Doshisha University

関 美和
ESG
POWER Morgan Stanley

エグゼクティブ・マネージメント

キーラン・ジョンソン
チーフ・アカウンティング・オフィサー
KPMG GSK

キャンデル・チョン
チーフ・オブ・スタッフ
J.P.Morgan

グループオペレーション
東京 / ロンドン

クリス・カーギル
代表執行役社長CEO
KPMG J.P.Morgan

野村 広之進
チーフ・ファイナンシャル・オフィサー
Mitsubishi Research Institute MIZUHO

前田 敏宏
チーフ・オペレーティング・オフィサー
McKinsey&Company Bristol Myers Squibb MERCK

吉住 和彦
チーフ・コンプライアンス・オフィサー
NEC

英国：基礎研究・初期開発

マット・バーンズ
Nxera Pharma UK 社長
Takeda CELLTECH

研究開発・初期段階
創薬/ 前臨床 / 第1相

開発・商業化
第2相 / 第3相 / 第4相

日本：後期開発・商業化

杉田 真
ネクセラファーマジャパン代表取締役社長
Bristol Myers Squibb Johnson &Johnson AstraZeneca

戦略ロードマップ

02

当社の歩み

過去20年で複数の戦略を実行。2024年からはネクセラファーマとして新たな一歩を踏み出す

2000年代

日本にイノベーションを届けることを目的とした会社を設立

- ✓ 2004年に東証マザーズ（現東証グロース）にIPO

画期的な医薬品により、継続的な収益を生み出す企業を買収

- ✓ 2005年にアラキス社を186百万ドルで買収
- ✓ 2012年からはシーブリー、ウルティブロ、エナジアから安定的なロイヤリティを得る

ARAKIS

2015年

創出した新薬の開発・商業化権利をグローバル製薬企業に売却することで、利益と市場評価を高める

- ✓ 15以上（現在も増加中）の提携プログラムにより、契約一時金・マイルストン収益に加え、将来的にはロイヤリティ収入も期待できる

新薬パイプラインを持続的に創出できる研究特化型の企業を買収

- ✓ 2015年にヘプタレス社を400百万ドルで買収

HEPTARES therapeutics

2023年

上位市場への上場を行い、多くの大規模投資を行う機関投資家への露出を高める

- ✓ 2023年に東証プライム市場へ上場
- ✓ 産業革新投資機構（JIC）傘下のファンドから、上場ヘルスケア企業初の出資を受ける

上市品を有する製薬企業を買収。フルセットのバイオ医薬品企業となり、さらなる持続的な収益成長を目指す

- ✓ 2023年にイドルシアファーマシューティカルズジャパン、Idorsia Pharmaceuticals Koreaを466百万ドル（約650億円）で買収
- ✓ ピヴラッツ®の売上げが急速に拡大

idorsia JAPAN KOREA

2024年

Nxera

新しいコーポレートブランドを発表:

ネクセラファーマ

医薬品の次の時代におけるリーダーとなる

日本から
日本そして世界へ

Nxera

私たちのミッションを実現するために…

最先端のテクノロジーにより、画期的な医薬品をいち早く届ける

1

日本市場に向け複数の後期開発品・上市品を獲得

2

NxWave™プラットフォームへの投資による創薬加速

3

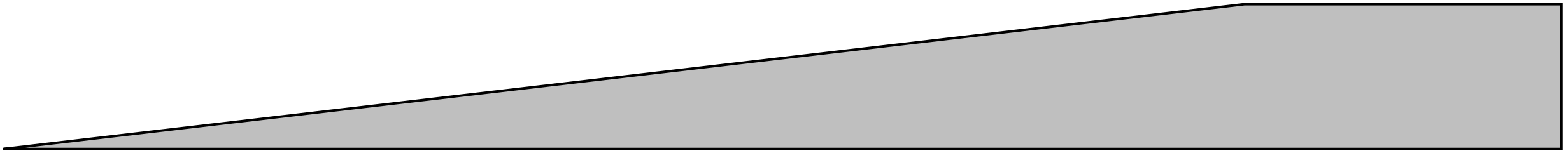
最先端技術による業務インフラの整備

上記3つを集中的に実行し、ミッションをできる限り早く達成することを目指す

…フルセットの機能を備えた日本発のバイオファーマを構築

日英の事業基盤を最大限活用しつつ、当社のミッションをいち早く達成すべく成長を加速させる

2000年代	2015年	2023年	2024年
ARAKIS	HEPTARES therapeutics	idorsia JAPAN KOREA	NxWave



探索/前臨床	臨床試験			承認 商業化
	第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相	
	英国			日本

2 NxWave™プラットフォームへの投資による創薬加速

1 日本市場に向け複数の後期開発品・上市品を獲得

3 最先端技術による業務インフラの整備

2024年の主な目標

01	ピヴラッツ®の売上高160億円以上（薬価ベース）	若干の遅れ 新たな目標 150～160億円
02	ダリドレキサントの日本での承認取得	✓ 2024年9月
03	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	計画通り進捗
04	1つ以上の価値の高い提携契約の締結、 自社による第Ⅰ相試験を1つ以上開始	✓ Boehringer Ingelheim ✓ 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 システム・アプリケーションなどのPMI投資を実施	計画通り進捗

パイプライン

Programs by Design

03

主要パイプライン一覧

	基礎研究 / 探索 /前臨床開発	第1相	第2相	第3相	申請	上市済み
自社開発	10以上のプログラム	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 GPR52作動薬 NXE'149 統合失調症 (Boehringer Ingelheim)		Cenerimod (A) 全身性エリテマトーデス Lucerastat (A) ファブリー病	クービビック® (A) 不眠症 (SHIONOGI)	ピヴラッツ® (A) 脳血管攣縮
提携	15以上のプログラム 創薬提携（進行中/実施済） Pfizer 複数ターゲット Genentech 複数ターゲット Takeda 消化器系疾患 abbvie 神経疾患 Lilly 糖尿病/代謝性疾患 技術提携（進行中） PHARMENABLE AI創薬 verily AI創薬 KALLYOPE 脳腸軸 PeptiDream PAR2ペプチド precisionlife 神経疾患/自己免疫疾患	M_1 作動薬 NBI'567 (J) 神経疾患 (NEUROCRINE BIOSCIENCES) M_4 作動薬 NBI'569 神経疾患 (NEUROCRINE BIOSCIENCES) MC4 拮抗薬 PF'669 低栄養 (Pfizer) M_1M_4 作動薬 NBI'570 神経疾患 (NEUROCRINE BIOSCIENCES) GLP-1 作動薬 PF'522 2型糖尿病 (Pfizer) CCR6 拮抗薬 PF'894 炎症性腸疾患 (Pfizer) $mGlu_5$ NAM TMP-301 物質使用障害 (TEMPERO BIO)	M_4 作動薬 NBI'568 統合失調症 (NEUROCRINE BIOSCIENCES) OX2 作動薬 ORX750 ナルコレプシー (CENTESSA)			呼吸器系疾患治療薬 COPD 喘息 (NOVARTIS)

：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

注：シープリ®、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。

主要パイプライン一覧（今後の進捗予測）

	基礎研究 / 探索 /前臨床開発	第1相	第2相	第3相	申請	上市済み
自社開発	10以上のプログラム	EP4 拮抗薬 NXE'732 進行性固形がん（CANCER RESEARCH UK）	2025年 (現在のPh1/2a試験は2025年にPh2aコホート拡大予定)	Cenerimod (A) 全身性エリテマトーデス		ピヴラッツ® (A) 脳血管攣縮
		EP4 作動薬 NXE'744 炎症性腸疾患	2026年 (現在の試験完了：2025年)	Lucerastat (A) ファブリー病	クービビック® (A) 不眠症（SHIONOGI）	2024年Q4
		GPR52作動薬 NXE'149 統合失調症（Boehringer Ingelheim）	2026年 (現在の試験完了：2025年)			
提携	15以上のプログラム 創薬提携（進行中/実施済） Pfizer 複数ターゲット Genentech 複数ターゲット Takeda 消化器系疾患 abbvie 神経疾患 Lilly 糖尿病/代謝性疾患 技術提携（進行中） PHARMENABLE AI創薬 verily AI創薬 KALLYOPE 脳腸軸 PeptiDream PAR2ペプチド precisionlife 神経疾患/自己免疫疾患	M_1 作動薬 NBI'567 (J) 神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES）	M_1M_4 作動薬 NBI'570 神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES）	M_4 作動薬 NBI'568 統合失調症（NEUROCRINE BIOSCIENCES）	2025年上期	呼吸器系疾患治療薬 COPD 喘息（NOVARTIS）
		M_4 作動薬 NBI'569 神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES）	GLP-1 作動薬 PF'522 2型糖尿病（Pfizer）	OX2 作動薬 ORX750 ナルコレプシー（CENTESSA）		
		MC4 拮抗薬 PF'669 低栄養（Pfizer）	CCR6 拮抗薬 PF'894 炎症性腸疾患（Pfizer）			
			$mGlu_5$ NAM TMP-301 物質使用障害（TEMPERO BIO）	2024年末		

：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

注：シープリ®、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。

2024年の進捗と今後のイベント見込み

自社プログラムと、提携先発表済の進捗予定（新規の事業開発案件は含まない）

	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	Nxera	達成（2024年3月）	第Ⅰ相臨床試験開始
✓	GPR35受容体作動薬	GSK / Nxera	達成（2024年3月）	プログラム返還
✓	GPR52受容体作動薬	Boehringer Ingelheim	達成（2024年3月）	オプションライセンス契約
✓	NBI-568（M4受容体作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	達成（2024年4月）	長期毒性試験成功
✓	NBI-567（M1受容体作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	達成（2024年5月）	第Ⅰ相臨床試験開始
✓	ORX750（Ox2作動薬）	CENTESSA PHARMACEUTICALS	達成（2024年5月）	第Ⅰ相臨床試験開始
✓	NBI-568（M4受容体作動薬）	NEUROCRINE BIOSCIENCES	達成（2024年8月）	第Ⅱ相臨床試験トップライン結果発表
✓	ORX750（Ox2作動薬）	CENTESSA PHARMACEUTICALS	達成（2024年9月）	第Ⅰ相臨床試験完了・POCデータ
✓	ORX750（OX2作動薬）	CENTESSA PHARMACEUTICALS	達成（2024年11月）	第Ⅱ相臨床試験開始
	Cenerimod	idorsia	2024年第4四半期	オプション権行使の判断
	Lucerastat	idorsia	2024年第4四半期	オプション権行使の判断
	ダリドレキサント（韓国）	Nxera	2024年第4四半期	新規提携&第Ⅲ相臨床試験開始
	ダリドレキサント（日本）	SHIONOGI	2024年第4四半期	承認取得（達成）＆上市
	TMP-301 (mGlu5 NAM)	TEMPERO BIO	2024年末	第Ⅱ相臨床試験開始

主要パイプライン一覧（事業カテゴリー）

	基礎研究 / 探索 /前臨床開発	第1相	第2相	第3相	申請	上市済み
自社開発	10以上のプログラム	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 GPR52作動薬 NXE'149 統合失調症（Boehringer Ingelheim）		Cenerimod（A）全身性エリテマトーデス Lucerastat（A）ファブリー病	クービビック®（A）不眠症（SHIONOGI）	ピヴラッツ®（A）脳血管攣縮
提携	15以上のプログラム 創薬提携（進行中/実施済） Pfizer 複数ターゲット Genentech 複数ターゲット Takeda 消化器系疾患 abbvie 神経疾患 Lilly 糖尿病/代謝性疾患 技術提携（進行中） PHARMENABLE AI創薬 verily AI創薬 KALLYOPE 脳腸軸 PeptiDream PAR2ペプチド precisionlife 神経疾患/自己免疫疾患	M_1 作動薬 NBI'567（J）神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES） M_4 作動薬 NBI'569 神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES） MC4 拮抗薬 PF'669 低栄養（Pfizer） M_1M_4 作動薬 NBI'570 神経疾患（NEUROCRINE BIOSCIENCES） GLP-1 作動薬 PF'522 2型糖尿病（Pfizer） CCR6 拮抗薬 PF'894 炎症性腸疾患（Pfizer） $mGlu_5$ NAM TMP-301 物質使用障害（TEMPERO BIO） M_4 作動薬 NBI'568 統合失調症（NEUROCRINE BIOSCIENCES） OX2 作動薬 ORX750 ナルコレプシー（CENTESSA） NxWave™ プラットフォーム創薬				呼吸器系疾患治療薬 COPD 喘息（NOVARTIS）

日本市場向け導入品（パイプライン型）

：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

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。

事業カテゴリーごとの戦略

各事業の価値を最大化し、相互のシナジーを最大限に発揮するため今後開発で密に連携していく

	NxWave™ プラットフォーム創薬	日本市場向け導入品
既存事業の成長	■ 既存のパートナーと協力し、当社が導出したパイプラインの進展を支援 ■ 少なくとも年間1件以上の新規の価値の高い提携および/または共同投資を実施	■ 2つの製品（ピヴラッツ®/クービビック®）の売上と収益を最大化かつ最適化する
戦略的成長	■ シナジー効果のある新技術への投資や提携を実施	■ 後期開発品を導入し、日本・APACにおいて臨床開発および商業化

日本/APAC事業

イノベーションを日本/APACの患者さまへお届けする

04

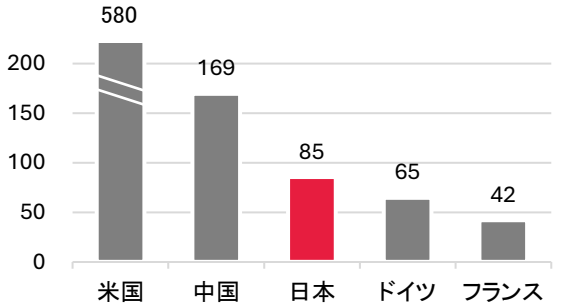
Commercial

日本はAPAC市場進出への拠点

日本は確立された大きな市場であり、魅力的な市場の一つ

日本は2番目に大きな医薬品市場（中国除く）

市場規模（十億米ドル） *(2021年)*



今後の規制変更による追い風に期待

“国際共同治験の前の日本人フェーズ1試験は、追加実施の必要はない”

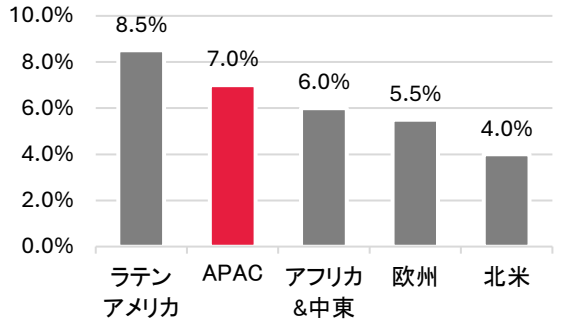
MHLW Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

質の高い臨床試験/規制環境

- ✓ 新薬を評価できる医師・医療従事者へのアクセス
- ✓ 新薬の患者への普及速度が速い
- ✓ 日本の患者に対するドラッグラグ・ロスの低減への活動が活発化

APACは2番目に成長している医薬品市場

市場成長率（CAGR %） *(2019～2027年)*



出所：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

Nxera

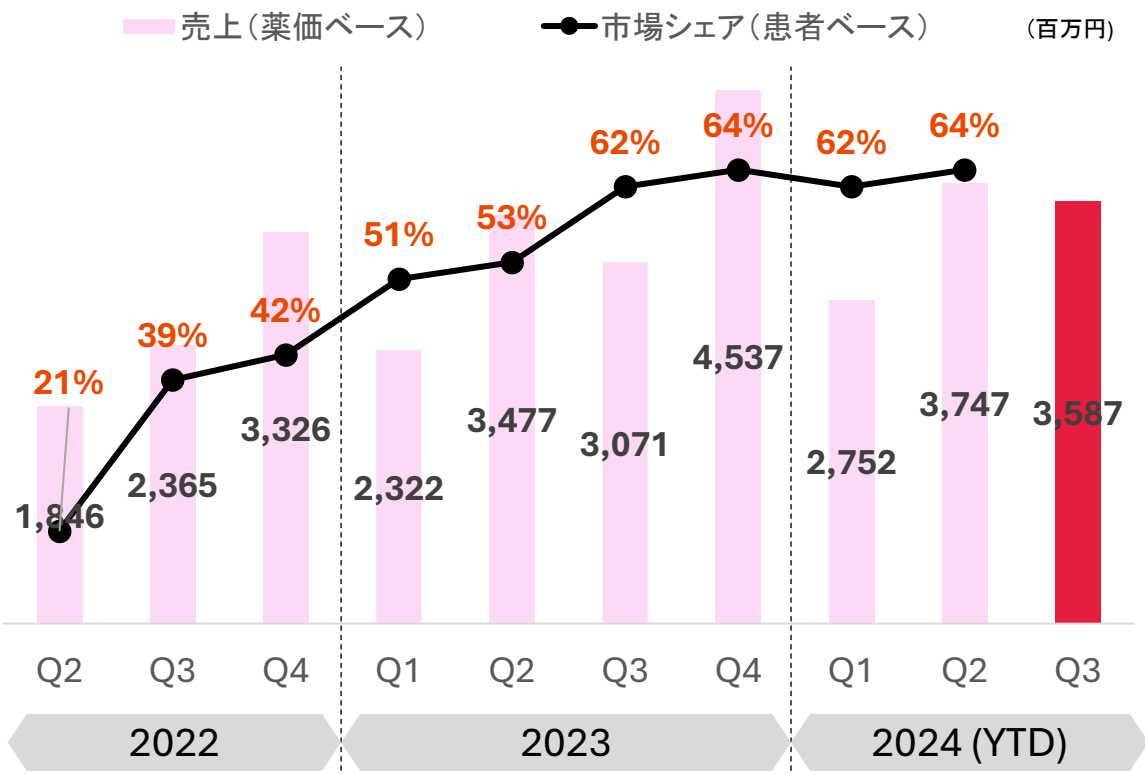
当社製品：ピヴラッツ®

PIVLAZ clazosentan

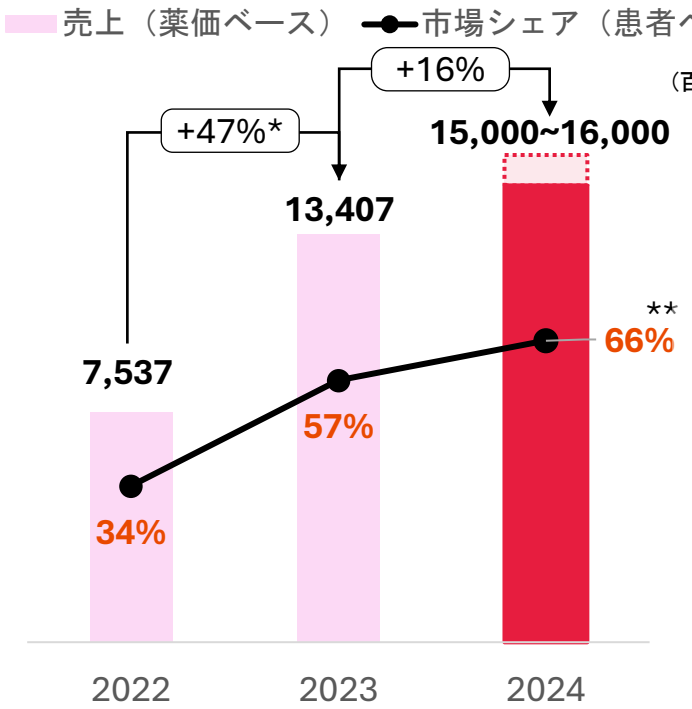
Commercial

当社初の自社製品ピヴラッツ®は市場に普及し、日々命を救っている。

ピヴラッツ®の四半期毎売上（薬価ベース）



ピヴラッツ®の年間売上と成長率



- ✓ 売上目標をアップデート
- ✓ 堅調な売上成長を維持（2023年～2024年の成長（1Q～3Q）：+14%）

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2-4Qの比較、**：過去の傾向からの推定

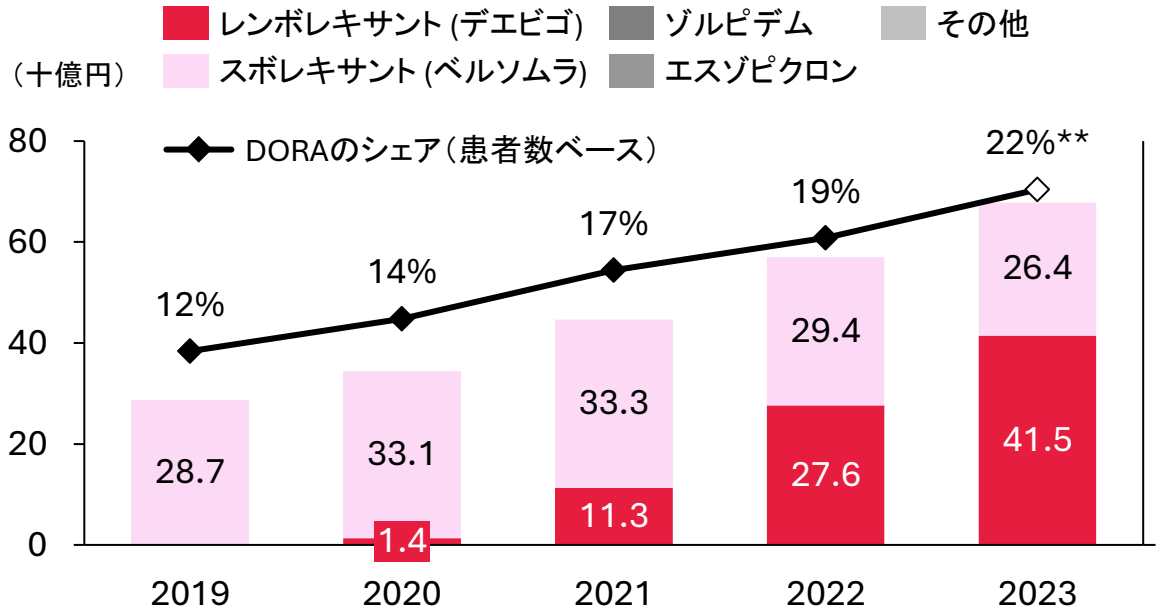
クービビック®*：新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬（DORA）

DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している

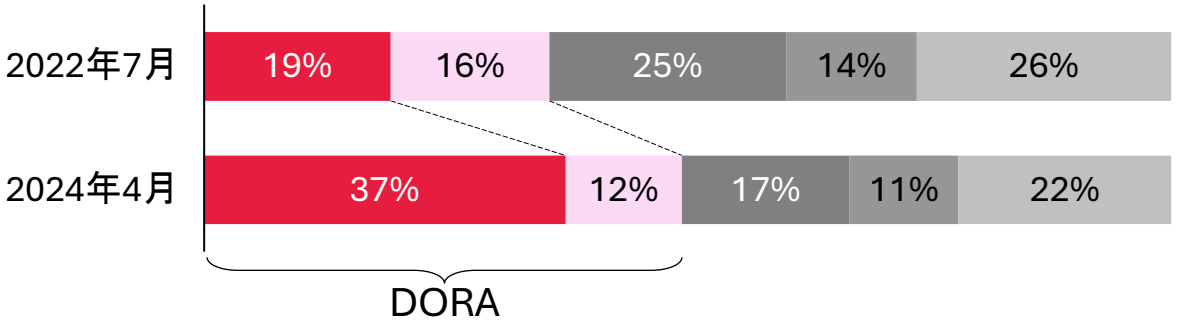
不眠症治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬 薬価基準未収載 クービビック®錠 25mg 50mg

Commercial

薬価ベース売上および市場シェア



処方頻度（最も処方頻度の高い睡眠薬）



- ✓ 日本の不眠症治療市場において、DORAの市場シェアは急拡大
- ✓ 日本は世界的に見てDORAの主要市場の一つ

出所：日経メディカル（2022/7/23, 2024/4/13）、IQVIA、Encise、エーザイ株式会社のウェブサイト
*スイス イドルシア社が創出、**2023年は予想値

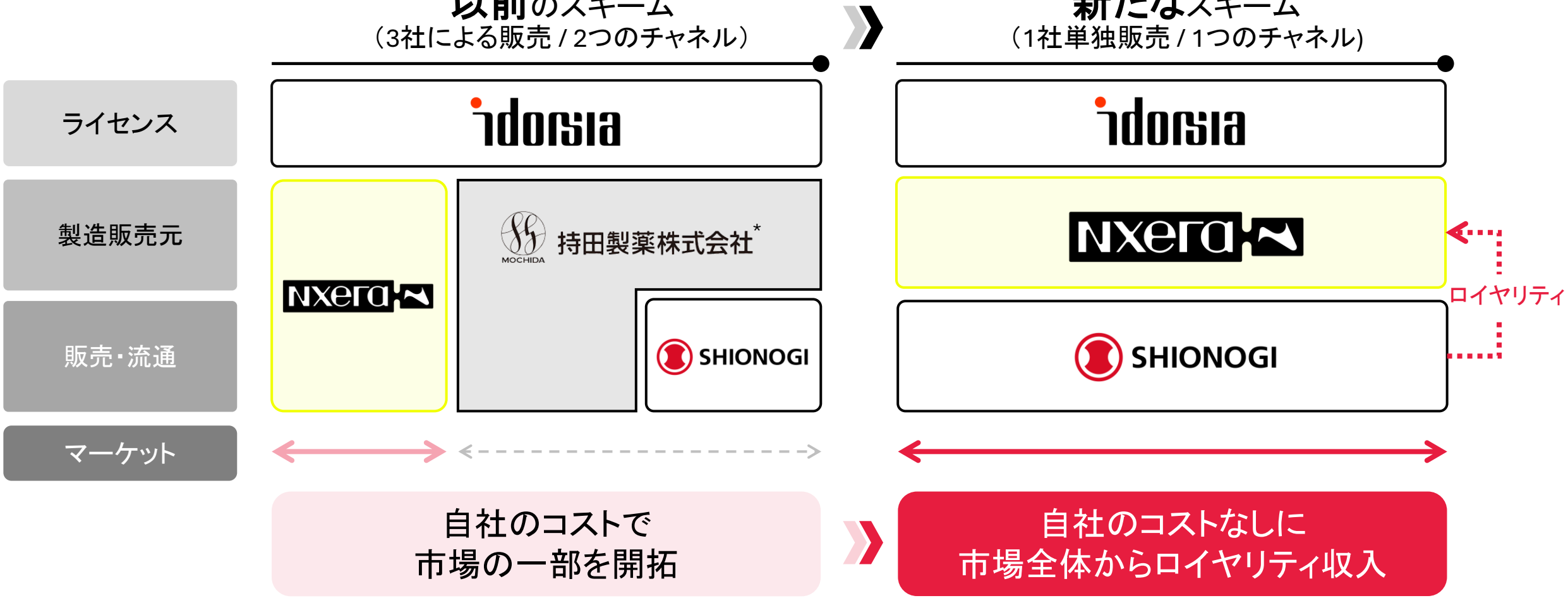
Nxera

クービビック®：ビジネススキームの変更

塩野義製薬が日本国内の販売、流通を単独で担う

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

Commercial



* 持田製薬は今後も日本におけるクービビック®の製造を独占的に担当

自社パイプライン：クービビック®

2024年9月に製造販売承認を取得し、ベストインクラスの薬剤を目指す

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（薬価基準未収載）

Commercial

不眠症治療の重要なアンメットニーズ

- 夜間の中途覚醒
- 速やかな入眠
- 服薬翌日への持ち越し効果

クービビック®の特徴

デュアルオレキシン受容体拮抗薬	オレキシン受容体に対する強力な阻害作用による過度な覚醒状態を緩和
欧州不眠症ガイドライン	2023年の欧州不眠症ガイドラインで、オレキシン受容体拮抗薬で唯一使用できる薬剤として推奨されている[1]
優れた薬物動態プロファイル	T_{max}: 約0.5-1.4時間 $T_{1/2}$: 約6-9時間 グローバルPhase 3試験にて、翌日の眠気/日中機能への有意な改善が確認されている[2]

DORAにおけるベストインクラスの薬剤を目指す

出所：[1] ESRS Home | European Sleep Research Society, [2] Lancet Neurol 2022; 21: 125–39.

創薬プラットフォーム

最先端のサイエンス

05

Platform

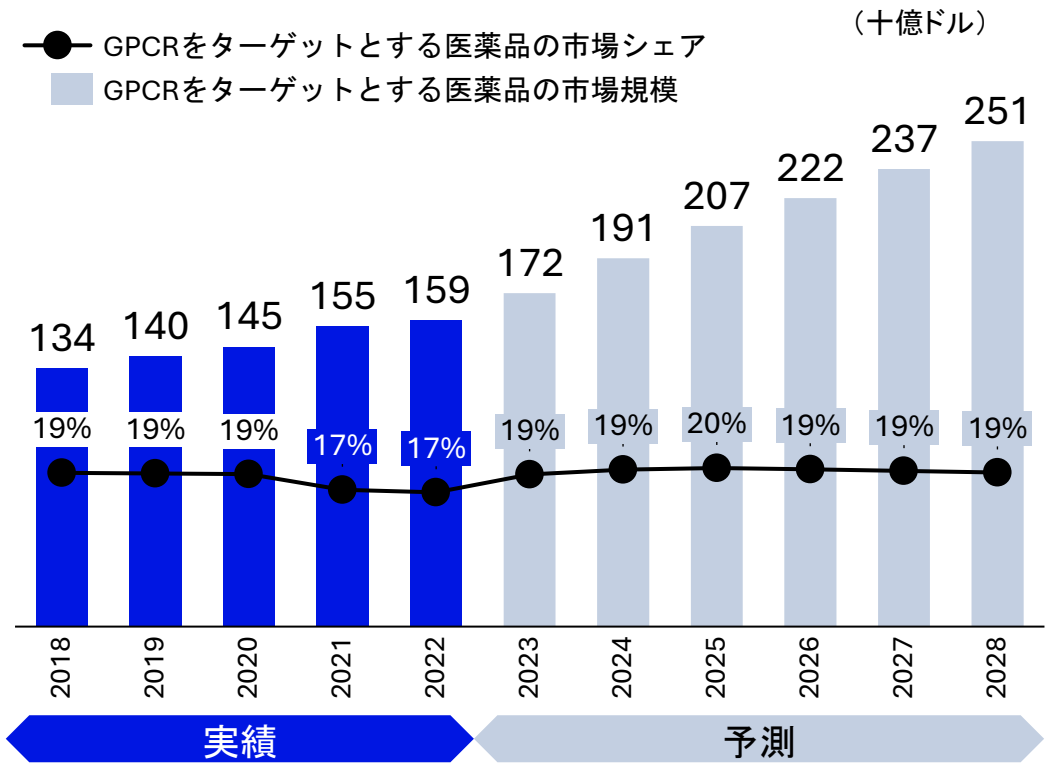
NxWave™プラットフォームを活用し、GPCRを標的に創薬

GPCRは最大の創薬ターゲットで、FDAが承認した医薬品のおよそ1/3がGPCRを標的としている

約400個
疾患に関係するGPCR[2]

約34%
のFDA承認薬がGPCRをターゲットにしている[1]

- 神経疾患
- 消化器系疾患
- がん
- 代謝性疾患
- 心血管疾患
- 呼吸器系疾患



GPCRは広範な疾患に関係し、
幅広い治療への可能性を秘めている

GPCRをターゲットとする医薬品は、
市場全体の20%を占めている

出所：[1] “Unexplored opportunities in the druggable human genome”, Nature Reviews, 2016；[2] “Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications”, Nature Reviews, 2017, GPCRs as targets for approved drugs: How many targets and how many drugs? (2018), Evaluate Pharma, The IUPHAR/BPS Guide to PHARMACOLOGY

Platform

GPCR：大きなアンメットニーズがあり、ファーストインクラスの機会が残る

GPCR創薬にはいまだ650以上のファーストインクラスの可能性が残る

ベストインクラスの可能性（約120個）：すでに医薬品が存在

ファーストインクラスの可能性

約680個

- 約310個のGPCRはアゴニスト・アンタゴニストともになし (約620の機会)
- 約60個のGPCRはアゴニスト・アンタゴニストどちらかのみ(約60の機会)

全体で約800 の創薬機会（潜在的に約400個の創薬ターゲットとなるGPCRが存在）

Marketed drugs only, *27 GPCRs × 2 (ago. and ant.)
出所：GPCRs as targets for approved drugs: How many targets and how many drugs? (2018), Evaluate Pharma, The IUPHAR/BPS Guide to PHARMACOLOGY

Platform

NxWave™プラットフォームにより、低コストで迅速かつ精密な創薬が可能

世界をリードする科学・プラットフォームにより創薬が難しい標的に対しても効率的な創薬が可能に

	従来の創薬	当社の創薬
主な創薬場所	実験室	コンピューター上
創薬方法	大型機械と人の手による 化合物スクリーニング（HTS[1]）	IT創薬プラットフォーム（NxStar™/SBDD） による新しい創薬
創薬期間[2]	平均4.5年	平均3.0年
創薬コスト[2]	15百万ドル	5百万ドル
特徴[3]	精密な創薬がしにくい	精密な創薬を行う
ターゲット[3]	構造が不安定なGPCRでは困難	構造が不安定なGPCRに最適

[1] HTS/High Throughput Screening。数万から数百万種類の化合物を、大型機械と人手を使い実際に創薬ターゲットと反応させることで、医薬品の候補を見つける手法。
[2] ターゲット選定～前臨床試験開始前までの段階。従来の創薬についてはNATURE REVIEWS Drug Discovery(MARCH 2010)より数値を引用。
[3] ターゲットの構造を解明後に創薬することで結合部位等を狙った精密な創薬が可能であり、改良、バックアップ作成、やり直しなどがしやすく、開発成功率が高まることが期待。ターゲットとなるGPCRは創薬の約3割に相当

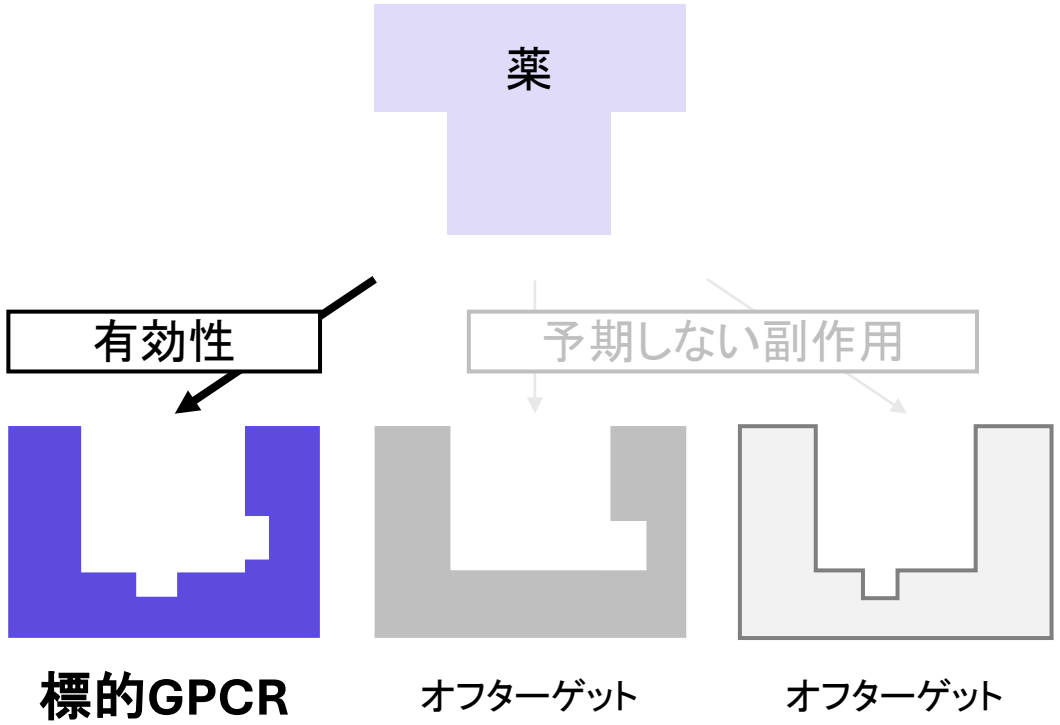
Platform

当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

精密な構造解析によって、優れた医薬品デザインが可能となる

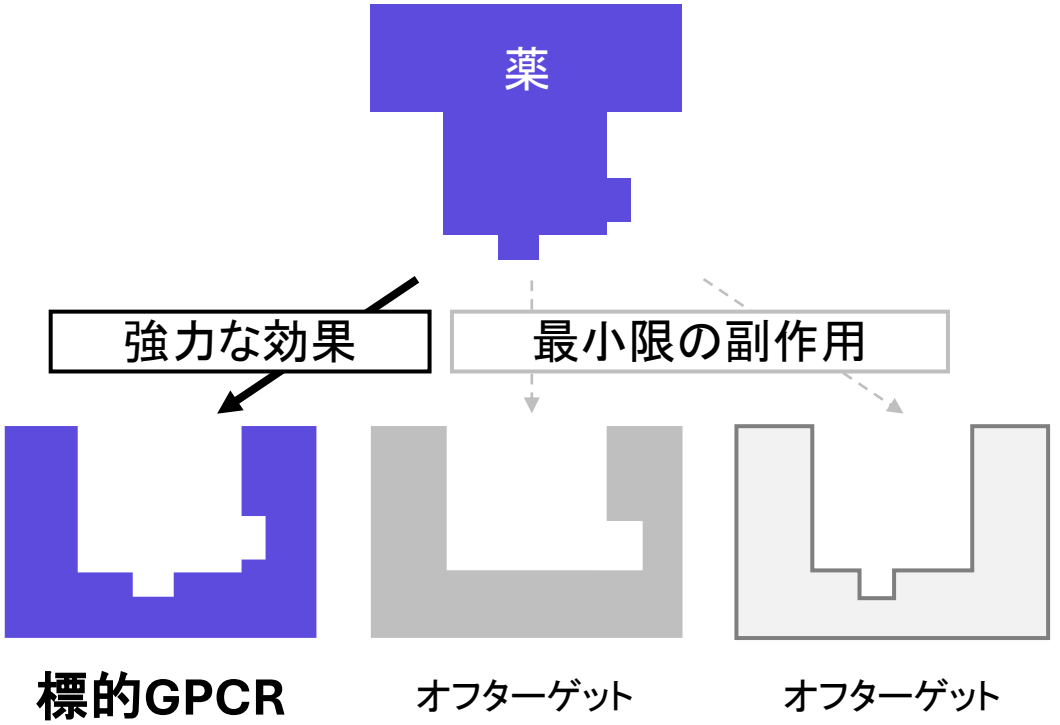
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

GPCR（鍵穴）に対する理解が不十分だと医薬品（鍵）も最適化できない



精密なGPCRモデル：優れた薬

GPCR（鍵穴）をよく知ることで選択性が上がり、有効性を高め副作用を最小化できる

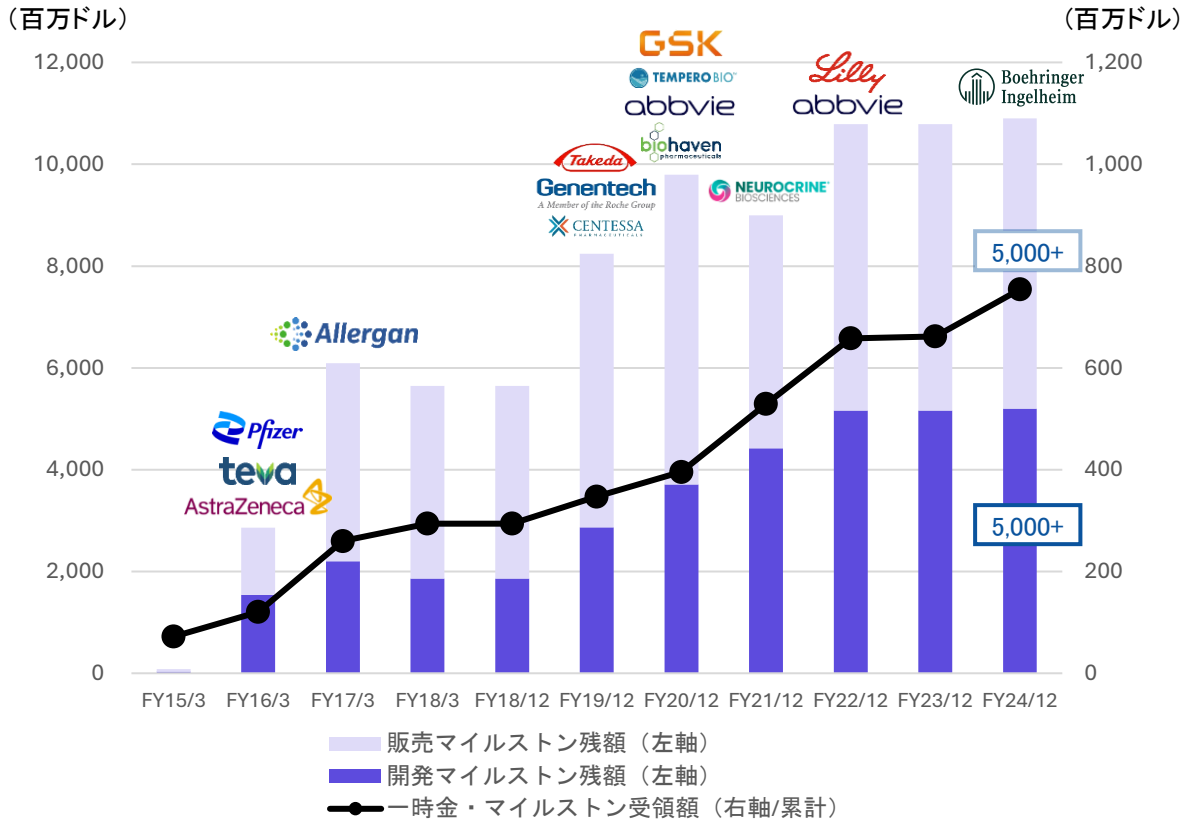


Platform

グローバルの大手製薬との豊富な取引実績があり…

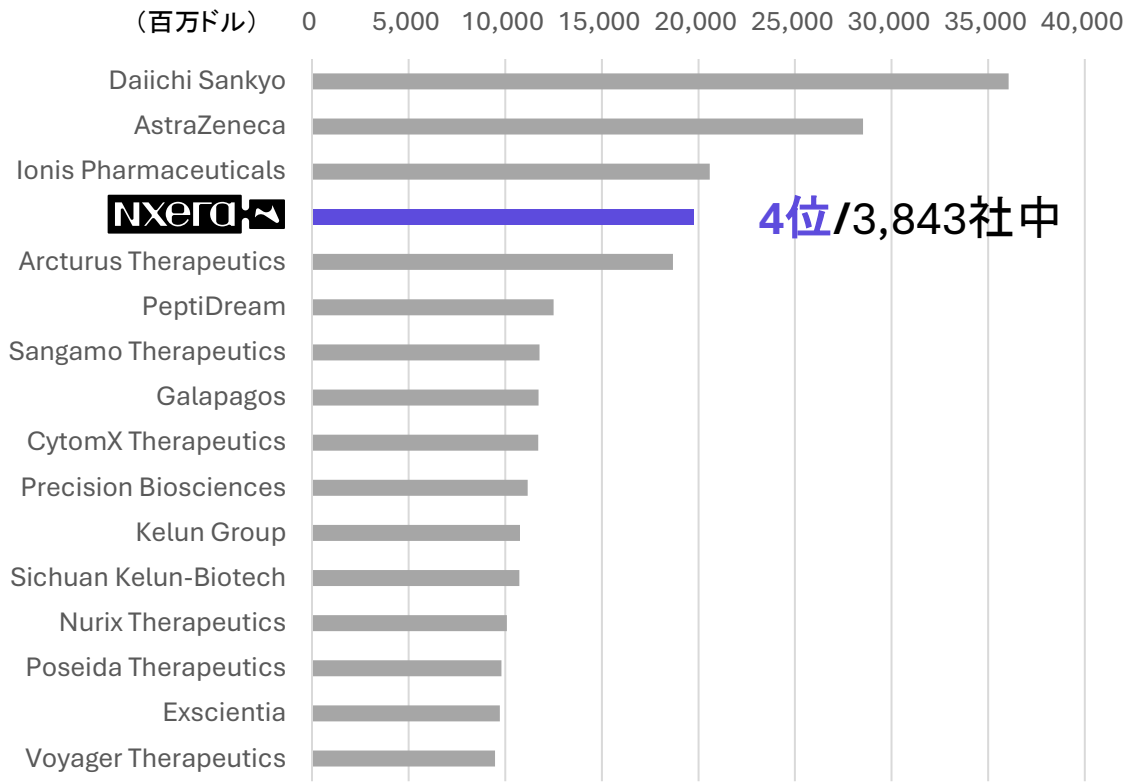
既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

既存契約のマイルストン残高推移[1]



製薬/バイオ企業のライセンス金額ランキング上位15社[2]

（2015年以降累計）



1 現在契約中のもののみの期末時点の残高。化合物が返還されたTEVA社、Abbvie社（旧Allergan社）は、それぞれ18/3期、21/12期以降の残高から除外。2 第三者（EvaluatePharma社）独自のデータベースの「Licensing」の分類に基づき作成しているため、左図の金額と完全に一致しない

出所：当社資料より作成（左図）、EvaluatePharma（2024/10/17時点）より作成（右図）

Platform

… これまでに数百億円を受領。さらに今後も数千億円の収益が得られる可能性

最近では、ベーリンガーインゲルハイム社とライセンスオプション権を含む契約を提携

提携先	提携時期	プログラム	疾患領域	契約一時金 初期マイルストン	マイルストン総額 （最大）[1]
Boehringer Ingelheim	2024年3月	GPR52作動薬のライセンスオプションを含む契約	統合失調症	25百万ユーロ	6.7億ユーロ
Lilly	2022年12月	複数のターゲットを対象とした創薬提携	糖尿病・代謝性疾患	37百万ドル	8億ドル
abbvie	2022年8月	複数のターゲットを対象とした創薬提携	神経疾患	80百万ドル	12億ドル
NEUROCRINE BIOSCIENCES	2021年11月	M4、M1、M1/M4作動薬のライセンス契約と研究開発提携	神経疾患	100百万ドル	26億ドル
GSK	2020年12月	GPR35作動薬のライセンス契約と研究開発提携	消化器疾患/免疫疾患	44百万ドル	4.8億ドル
biohaven pharmaceuticals	2020年12月	CGRP拮抗薬のライセンス契約と研究開発提携	神経疾患	10百万ドル	3.8億ドル
abbvie	2020年6月	ライセンスオプションを含む創薬提携[2]	炎症性疾患/自己免疫	32百万ドル	4億ドル
Takeda	2019年8月	複数のターゲットを対象とした創薬提携	複数 当面は消化器疾患に注力	26百万ドル	12億ドル
Genentech A Member of the Roche Group	2019年7月	複数のターゲットを対象とした創薬提携	複数	26百万ドル	10億ドル
Pfizer	2015年11月	複数のターゲットを対象とした創薬提携	複数	--	18億ドル

[1]将来受け取る権利を有するオプション行使料、開発 承認 商業化マイルストンの総額。これとは別に製品が販売された場合には、ロイヤリティとして売上高の一定割合（通常1桁中盤～2桁の段階的ロイヤリティ）を受領する権利を有する。
[2] アッヴィは最大3つのターゲットを追加的に選定できるオプションを有する。

Platform

M4作動薬（NBI-1117568）：第Ⅱ相臨床試験で良好な結果

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、統計的に有意な有効性（1日1回20 mgの投与）	➢ PANSS 合計スコアの変化	-18.2	主要評価項目および追加評価項目を達成し、**陽性症状と陰性症状の両方に有効性を示す**
	➢ PANSS 合計スコアの変化（対プラセボ比）	-7.5（p = 0.011）	
	➢ 効果量	0.61	
	➢ Marder因子スコアの変化（対プラセボ比）：		
	• 陽性症状	-3.0（p=0.004）	
	• 陰性症状	-1.9（p=0.028）	
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%）	試験した**すべての用量でNBI-1117568の安全性と忍容性を**確認
	➢ 消化器 (GI)/心血管 (CV)関連の有害事象発生頻度（Cobenfy (BMS/Karuna): 対プラセボ比で3-5倍 (GI), ~4倍 (CV) ）	プラセボと同程度	
第Ⅲ相臨床試験に向け迅速に推進	➢ 第2相臨床試験成功によるマイルストンを受領	35百万ドル	ムスカリン作動薬ポートフォリオの**可能性が拡大**
	➢ 第3相臨床試験	2025年上期に開始	
	➢ NBI-1117568の**追加の適応症**を探索中		
	➢ ムスカリン作動薬ポートフォリオの**後続化合物**の開発		

出所：Presentation of Neurocrine Sciences (Aug.28 2024), KarXT for Schizophrenia draft evidence report (Nov. 28, 2023)

最新の連結業績

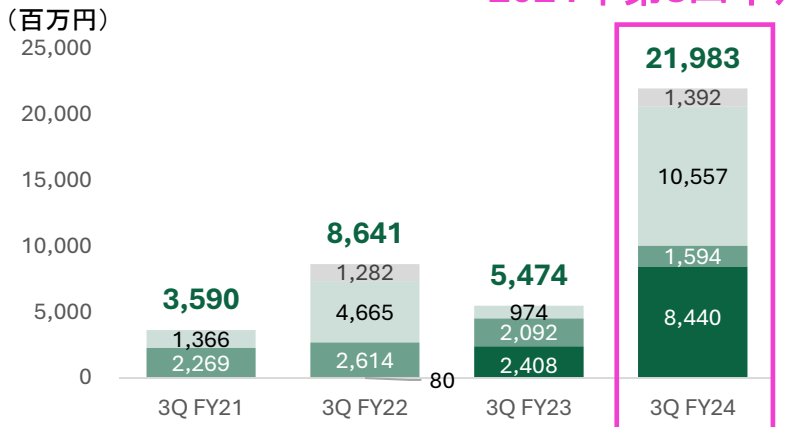
06

主要決算数値

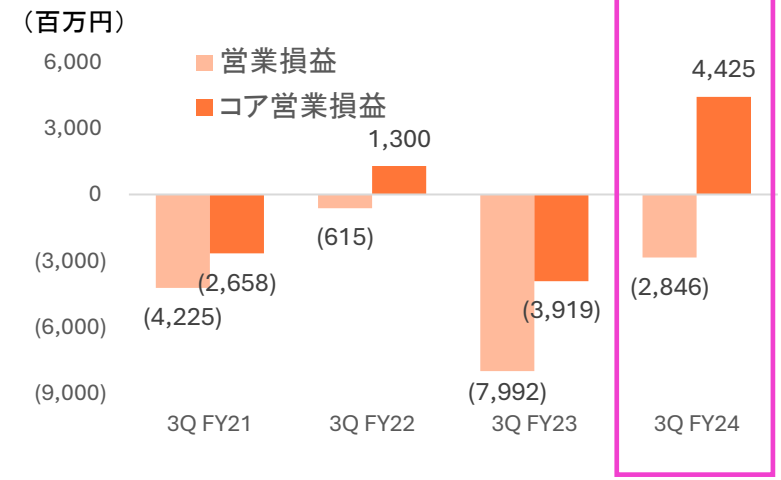
NPJ/NPKの買収は2023年半ばに完了し、2024年より通年で売上高（医薬品販売）と費用に寄与

2024年第3四半期実績

売上収益



営業損益



変動要因

契約一時金[1]	■ 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）
マイルストン収入[2]	■ M4進展によるニューロクライン社からのマイルストン15百万ドル（4月） ■ Centessa社からの4.6百万ドルのマイルストン（5月） ■ アッヴィ社からのマイルストン10百万ドル（6月） ■ M4の第Ⅱ相臨床試験の成功によるニューロクライン社からのマイルストン35百万ドル（9月）
ロイヤリティ/ その他	■ 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
医薬品販売	■ ピヴラッツ®の売上は拡大中。2024年からは通年で売上げを計上
研究開発費	■ 臨床試験のための研究開発活動への投資を増加 ■ NPJ/NPKを連結範囲に含めたことによる研究開発費の増加
売上原価	■ 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®の現在庫分に対して売上原価に加算
一般管理費	■ NPJ/NPKの連結による販売費及び一般管理費の増加 ■ 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）

1 契約開始時に認識された契約一時金
2 マイルストン達成時に認識されたマイルストン収入＋前受金取崩額

決算のブレークダウン

M&Aによる非現金支出および一時的支出費用は、2024年は通年で影響する

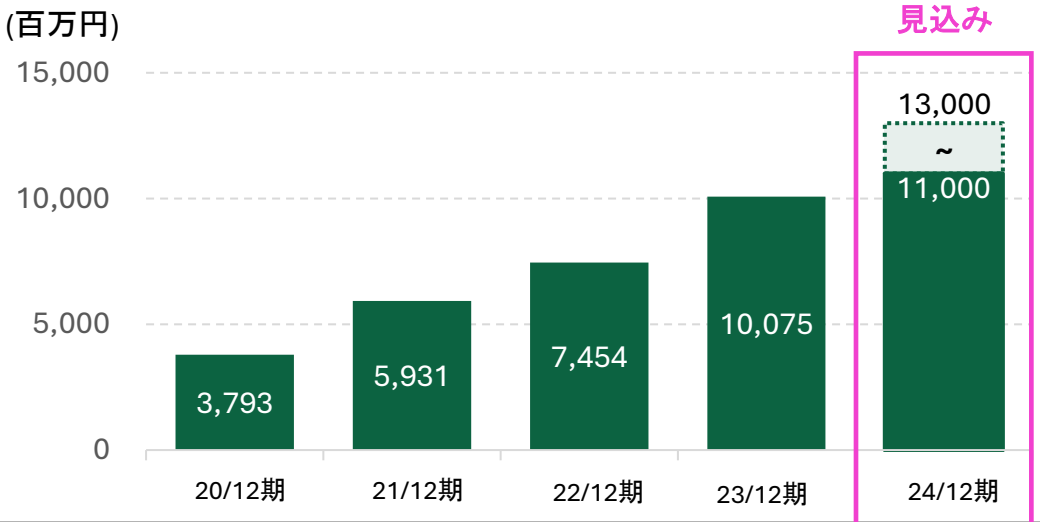
(百万円)	NPC / NPU*1	＋	NPJ / NPK*2	＝	連結損益（コア）	＋	非現金支出費用	＋	一時的支出費用	＝	連結損益（IFRS）
売上収益	13,613		8,370		21,983						21,983
売上原価＋販売費及び一般管理費	(4,823)		(6,100)		(10,923)		A (2,401) 売上原価調整額 B (1,022) 無形資産の償却 C (836) 統合関連費用 D (2,024) その他				(17,206)
研究開発費	(6,553)		(976)		(7,529)		D (988)				(8,517)
その他収益	933		(39)		894		合計：7,271				894
営業損益	**3,170**		**1,255**		コア営業損益 **4,425**						営業損益 **(2,846)**

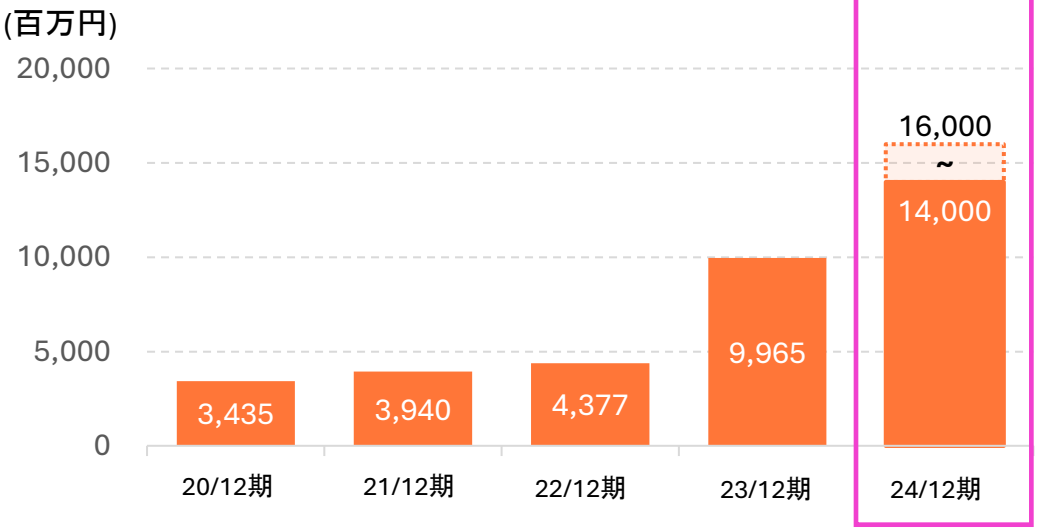
M&A関連	A 買収時におけるピヴラッツ®の在庫分に対して売上原価に加算。2024年第3四半期に完了。2024年4Q以降には発生しない。 B 無形資産の償却（現在はピヴラッツ®のみ該当）。2025年以降は年間1,800百万円程度を予定。 C システム統合費用やブランド再構築費用を含む統合費用。2025年には大幅に減少予定。
その他	D その他の無形資産（知財等）の償却、有形固定資産（実験設備等）の償却、株式報酬費用およびその他構造改革費用

*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）

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





研究開発費 (IFRS)

旧		新
12,000 ~ 14,000百万円	- 1,000百万円	11,000 ~ 13,000百万円

2024年12月期の主要ポイント

- 創薬・トランスレーショナルメディシン機能強化への投資
- 自社開発プログラムの臨床試験を開始(EP4 作動薬)
- 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

販管費 (IFRS)

旧		新
18,000 ~ 20,000百万円	- 4,000百万円	14,000 ~ 16,000百万円

2024年12月期の主要ポイント

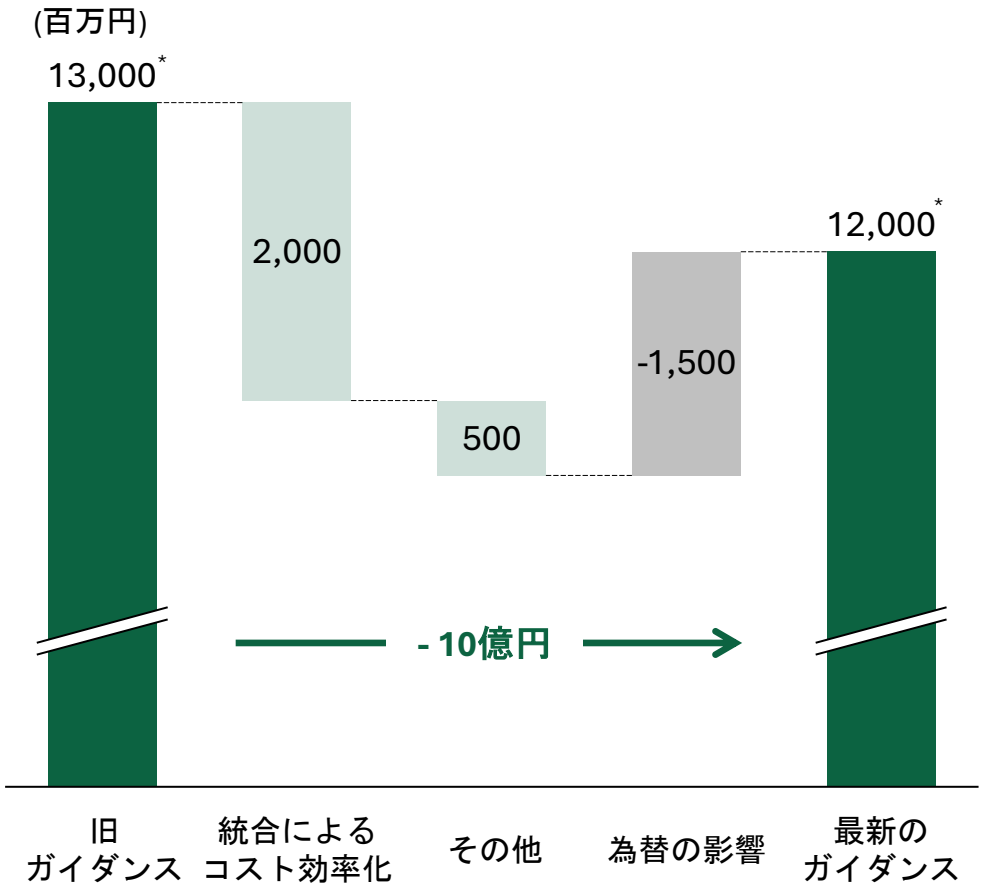
- NPJ[1]/NPK[2]の販管費が1年を通じて寄与
- ピヴラッツ®の販売加速のためのマーケティング費用
- ピヴラッツ®およびクービビック®の償却費の増加 (約16億円)
- NPJ/NPK買収関連費用(合併後の統合活動)(約10億円)

1. ネクセラファーマジャパン株式会社 2. Nxera Pharma Korea Co., Ltd.

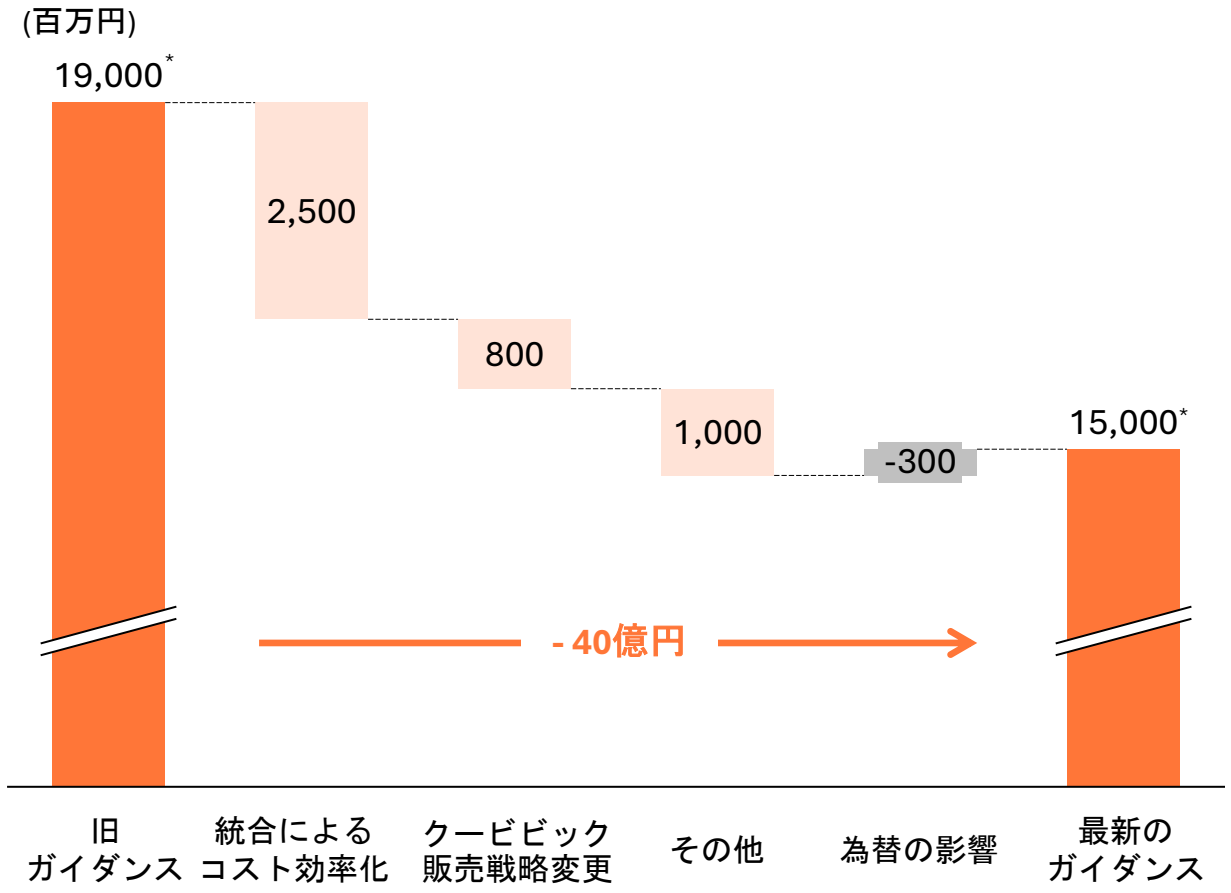
2024年12月期の期初時費用ガイダンスからの差異

引き続き販管費の最適化を進め、2025年も販管費の減少傾向が継続する見込み

研究開発費（IFRS）のガイダンス



販管費（IFRS）のガイダンス



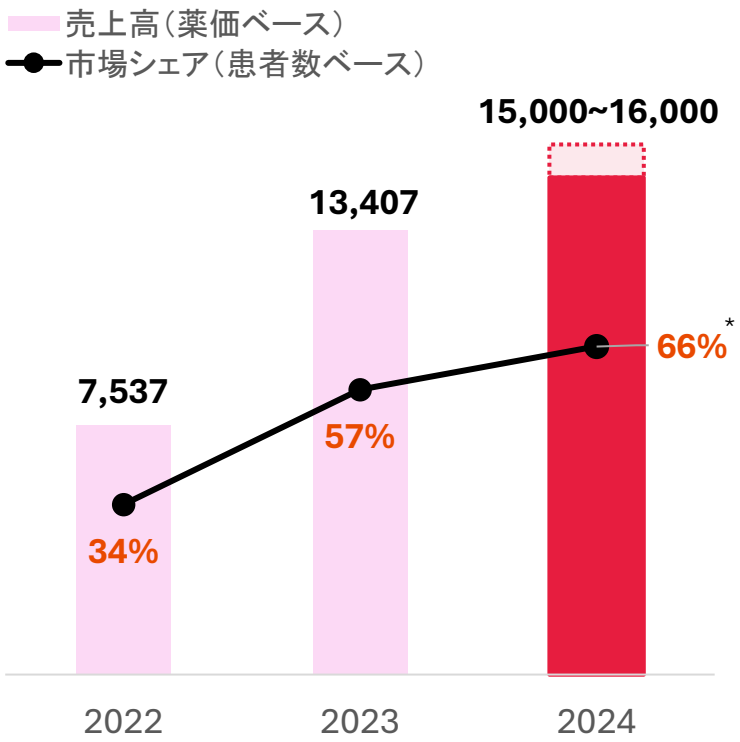
*ガイダンスのレンジ中央値を例として表示
想定為替レート：（期初）1USD=140円|1GBP=172円、（最新のガイダンス）1USD=152円|1GBP=193円

ピヴラッツ®の売上ガイダンス

くも膜下出血の発症率の低下と、年末の在庫最適化により売上ガイダンスをアップデート

ピヴラッツ®の売上ガイダンス

ガイダンスをアップデートしたものの、
ピヴラッツの市場シェアは順調に成長



売上ガイダンスアップデートの背景

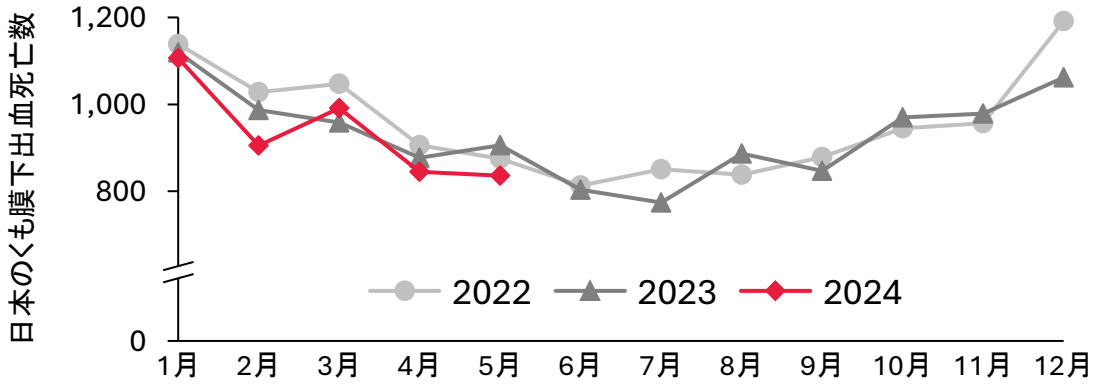
くも膜下出血発症数
が減少（2024年）

約8億円 ↓

年末在庫の最適化

約2億円 ↓

2024年（1月～5月）のくも膜下出血による死亡数は、
過去2年と比較して4～6%低かった。



2023
年末年始の需要増を勘案し、卸向けの在庫調整を実施。
（月次予測より**約2億円**超過）

2024
2022年～2023年の実績を踏まえ、在庫調整は取りやめ。

*過去の傾向からの推定

補足資料

07

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	$S1P_1$ 受容体モジュレーター	全身性エリテマトーデス	第3相	APAC地域（中国を除く）[1]
	Lucerastat	グルコシルセラミド合成酵素阻害薬	ファブリー病	第3相	
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	第2相*	
	ACT-1014-6470	C5aR1 拮抗薬	免疫介在性疾患	第1相*	
	IDOR-1117-2520	非開示	免疫介在性疾患	第1相*	
	ACT-777991	CXCR3 拮抗薬	発症早期の1型糖尿病	第1相*	

1 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」

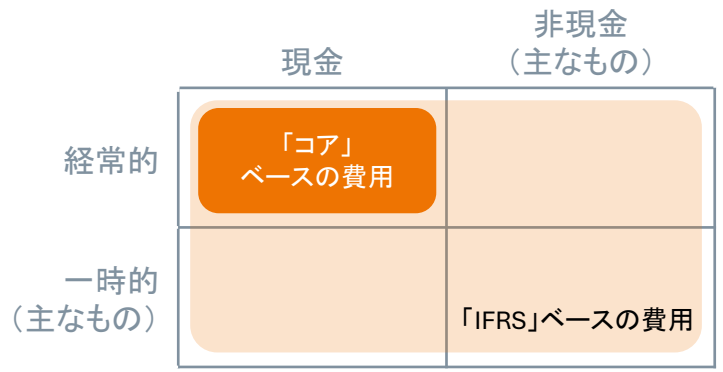
- コア営業利益は2022年より算出・開示する新しい主要財務指標で、事業の潜在的な経常キャッシュ創出能力を示す
- コア営業利益は営業利益（IFRS）＋重要な非現金支出費用＋重要な一時的支出費用で定義
- 重要な非現金支出費用には、減価償却費、無形資産の償却費、株式報酬費用、減損損失などが含まれる
- 重要な一時的支出費用には、構造改革費用やその他の重要な一時的項目が含まれる
- コア営業利益 = 現金利益＋重要な一時的支出費用

＋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）



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

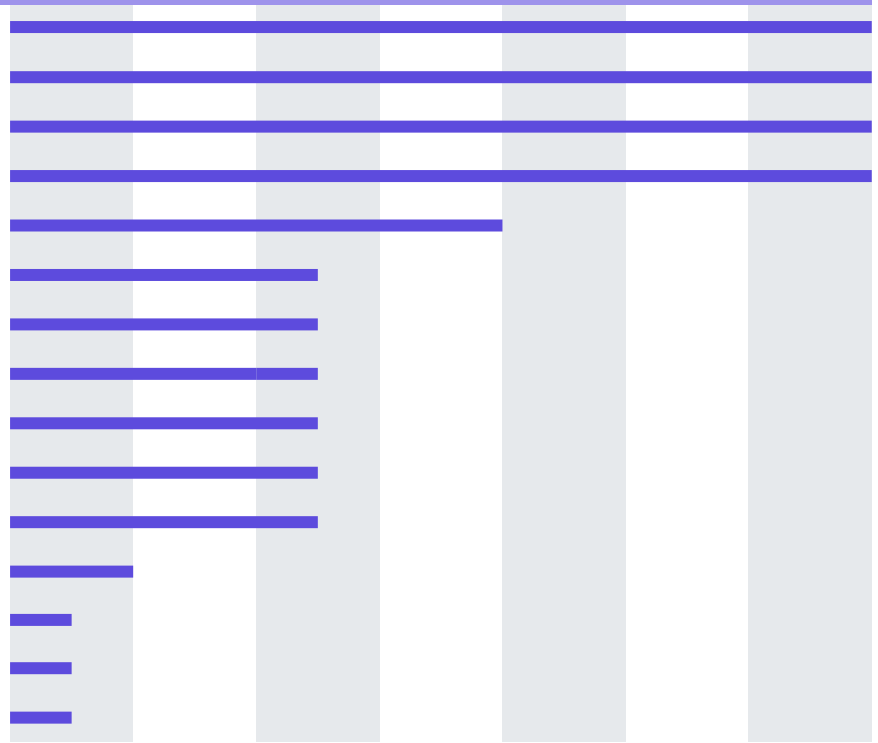
前臨床試験以降の開発品だけでも、最終製品はピーク売上高が数兆円のポテンシャル

カテゴリー	疾患名[2]	患者数	市場全体	個別製品	当社開発品
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[1]	- -	- -	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[3] (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	583億ドル (2022)	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	

出所（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（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ため「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
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
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-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。

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
共同開発											
KY1051	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							
共同出資											
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							
ORX142	OX2作動薬（経口）	低分子	精神疾患の日中の過度の眠気	CENTESSA Orexia Therapeutics							
ORX489	OX2作動薬（経口）	低分子	神経疾患	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	パートナー
自社開発品				
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	SHIONOGI
NXE0048149 [1]	GPR52 作動薬	低分子	神経疾患	Boehringer Ingelheim
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	
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）				
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

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™	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

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

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