



コーポレートプレゼンテーション

2025年3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。

- 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

1

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)

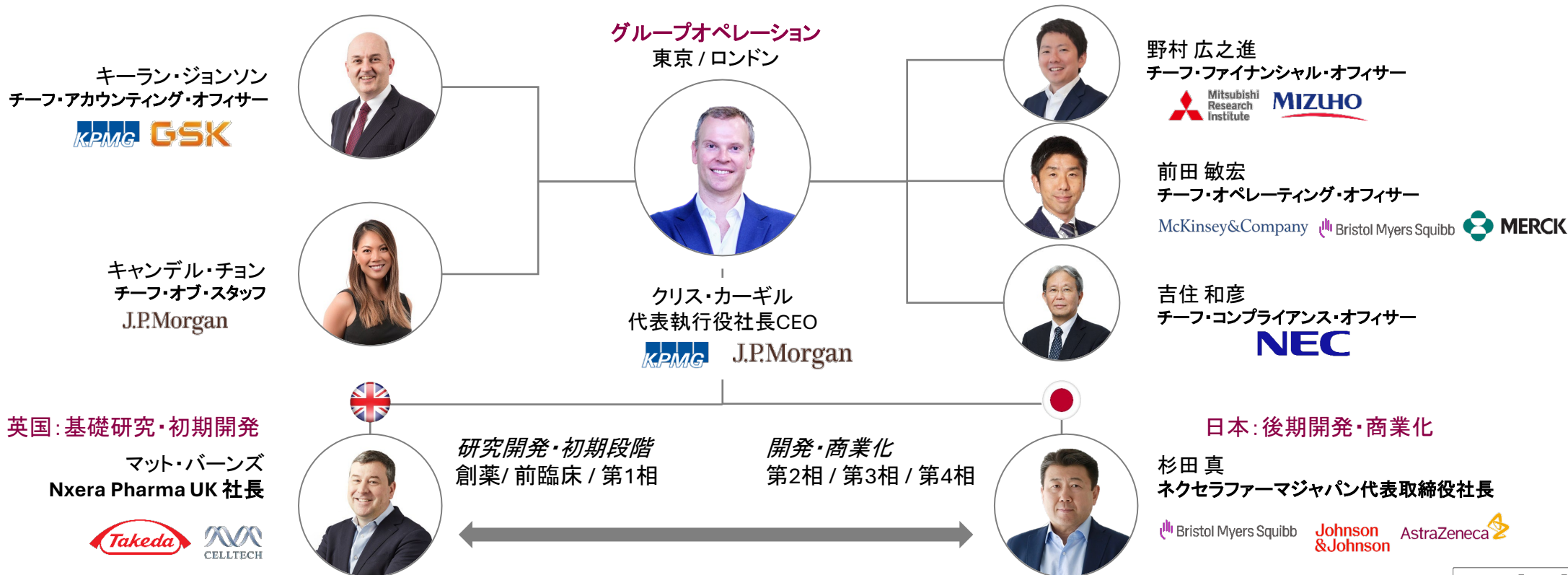


迅速な決断を可能とするマネジメント

取締役

 Genentech Fujisawa	 KPMG J.P.Morgan	 JMI ASSOCIATES	 M pwc BTG	 Pfizer BAYER	 Mitsubishi Chemical Holdings	 AstraZeneca Bristol Myers Squibb Eisai	 NOMURA Doshisha University	 POWER Morgan Stanley
------------------------	---------------------	--------------------	---------------	------------------	----------------------------------	--	--------------------------------	--------------------------

エグゼクティブ・マネージメント



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、ウルティプロ、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・マイルストーン収益に加え、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

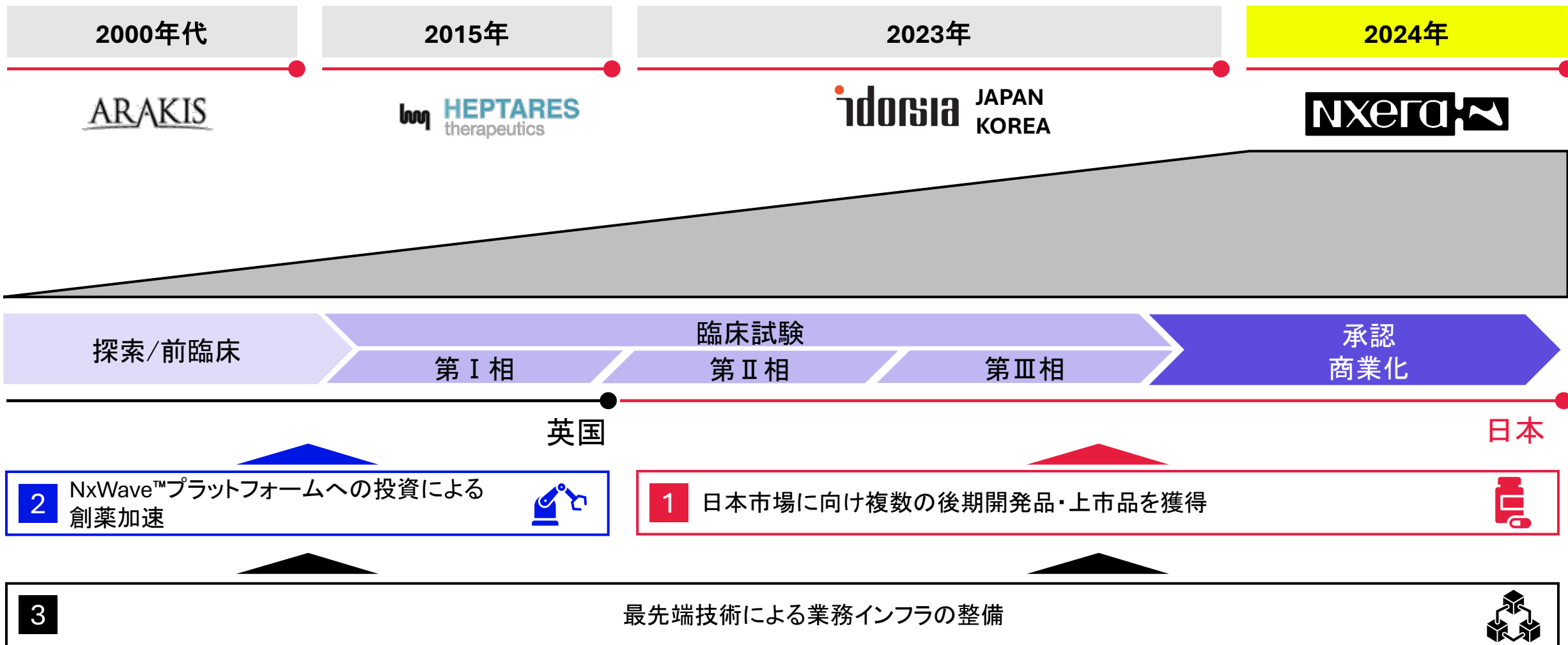
最先端技術による
業務インフラの整備

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





2025年の主な目標

01

製品関連の売上高170億円以上 (ピヴラッツ® + クービビック®)

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の取得もしくは導入

03

1つ以上の価値の高い提携契約の締結、
自社によるフェーズ2試験を1つ以上開始

04

効率性、拡張性のためのシステム、アプリケーションへの投資を継続

05

IFRS基準で営業黒字を達成 (GPR52作動薬のオプション行使時)



Wave 1 & Wave 2は、市場規模の極めて大きな疾患領域で開発中

	2030年の市場規模	WAVE1 (2030年までに上市予定)	WAVE2 (2035年までに上市予定)
神経疾患	18兆円 (1,200億ドル) 以上	TEMPERO BIO™ P1 mGlu5 NAM 物質使用障害 CENTESSA P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー NEUROCRINE™ BIOSCIENCES P2 M4 作動薬 統合失調症 NEUROCRINE™ BIOSCIENCES P2 M4 作動薬 双極性障害 NEUROCRINE™ BIOSCIENCES P1 M4/M1 作動薬 統合失調症	CENTESSA P1 前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する睡眠障害 NEUROCRINE™ BIOSCIENCES P1 M4 作動薬 認知機能障害、精神疾患 NEUROCRINE™ BIOSCIENCES P1 M1 作動薬 認知機能障害、精神疾患 NXE P1 GPR52 作動薬 統合失調症 abbvie 創薬 複数ターゲット 神経疾患
代謝性疾患	23兆円 (1,500億ドル) 以上	Pfizer P1 GLP-1 作動薬 2型糖尿病 / 肥満症 Pfizer P1 MC4 拮抗薬 低栄養	Lilly 創薬 複数ターゲット 2型糖尿病 / 肥満症 など
免疫・消化器	45兆円 (3,000億ドル) 以上	Pfizer P1 CCR6拮抗薬 炎症性腸疾患 NXE P1 EP4拮抗薬+PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法 CANCER RESEARCH UK	NXE P1 EP4 作動薬 炎症性腸疾患
		最大2,500億円(ピーク時の合計ロイヤリティ)	数千億円のマイルストーンおよびロイヤリティ収入



2030年のビジョン: 高成長で高収益な日本のバイオ製薬企業を築く

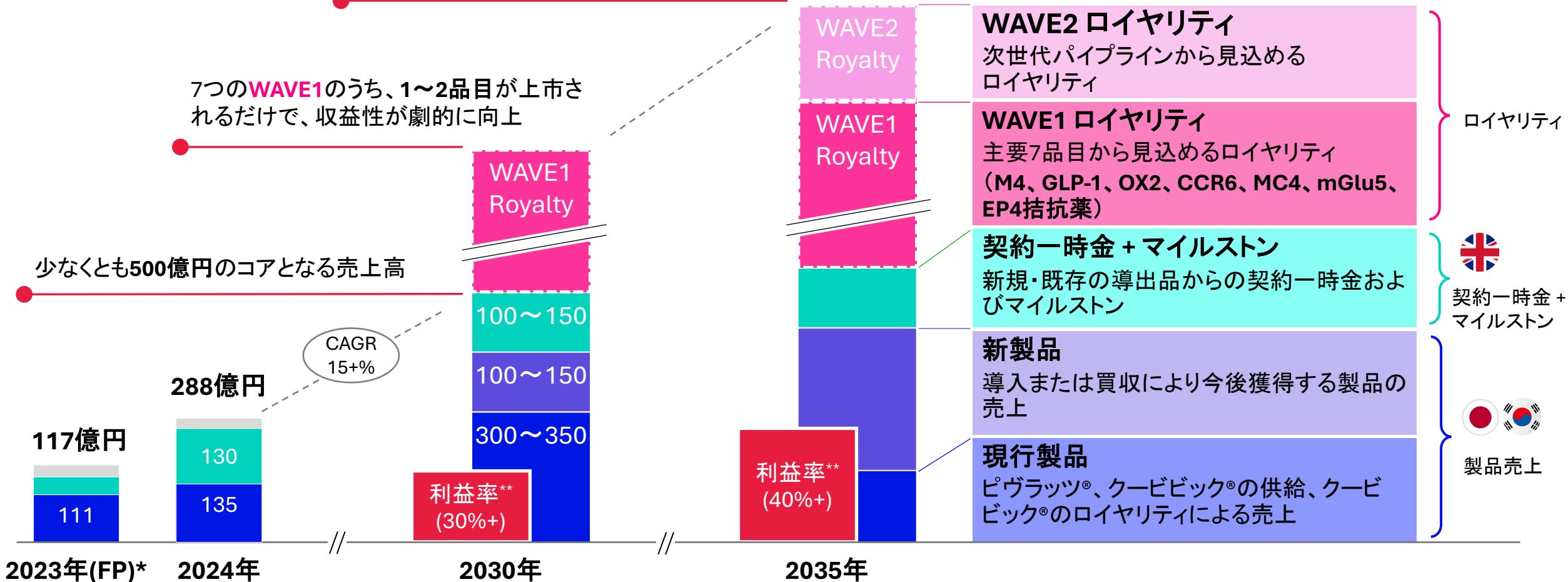
(億円)

WAVE1 + WAVE2 からのロイヤリティによる飛躍的な成長

7つのWAVE1のうち、1~2品目が上市されるだけで、収益性が劇的に向上

少なくとも500億円のコアとなる売上高

CAGR 15+%



注: * 収益の数値は、イドルシアファーマシューティカルズジャパンおよびIdorsia Pharmaceuticals Koreaの数値を合算したものであり、2023年のピヴラッツ®の年間製品売上高を反映

** WAVE1とWAVE2のロイヤリティは除外



パイプライン

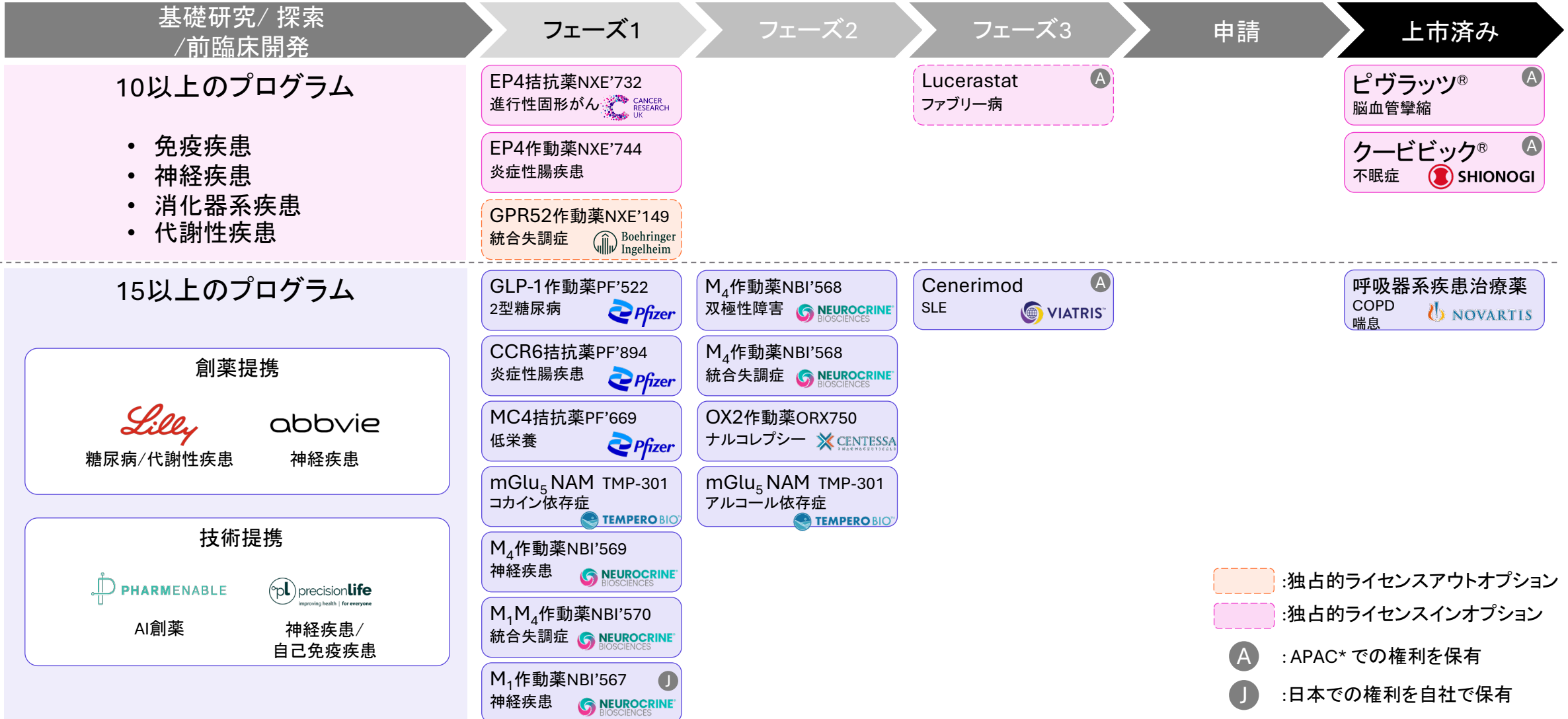
Programs by Design

03

主なパイプライン

自社開発

提携



 : 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

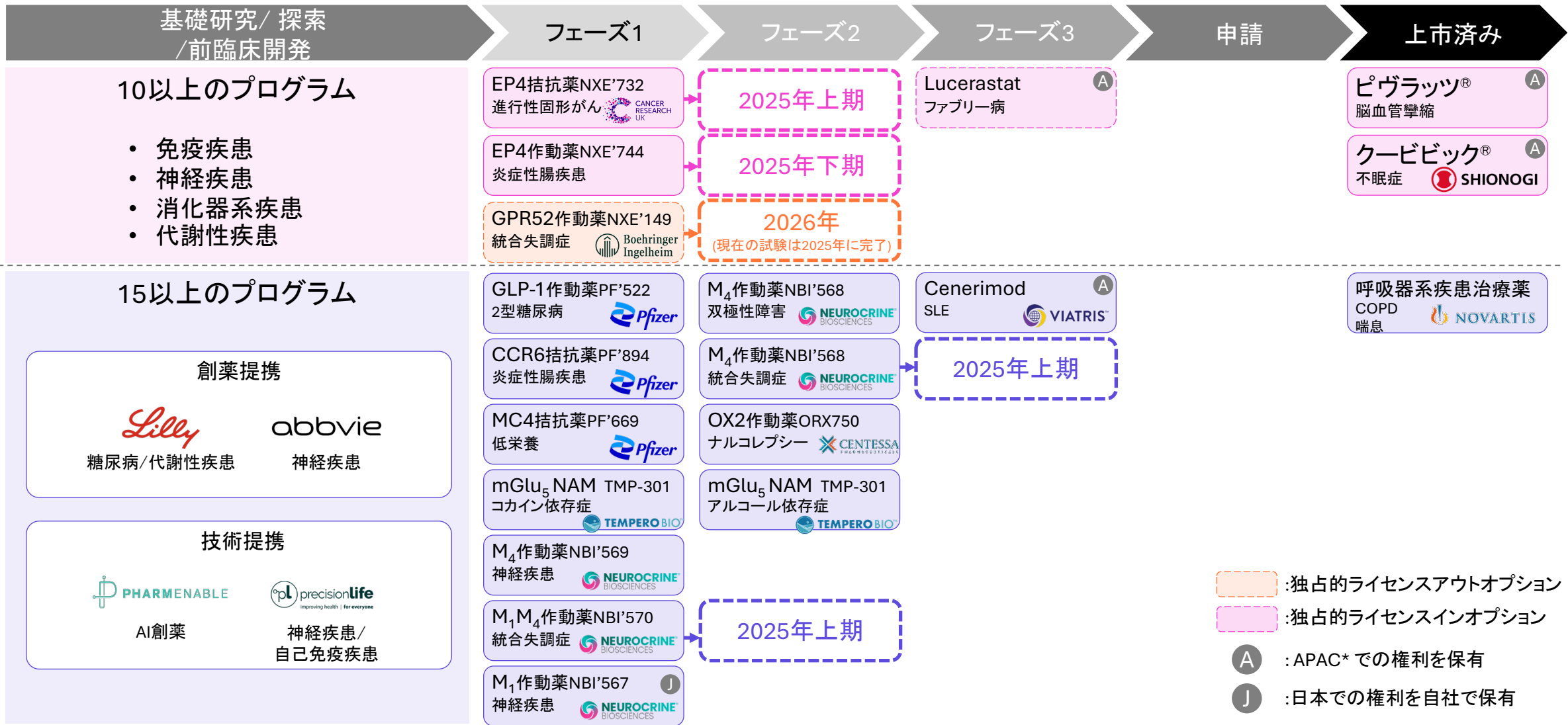
^J : 日本での権利を自社で保有

* 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

主なパイプライン

自社開発

提携
















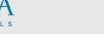




 : 独占的ライセンスアウトオプション
 : 独占的ライセンスインオプション
^A : APAC* での権利を保有
^J : 日本での権利を自社で保有

* 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

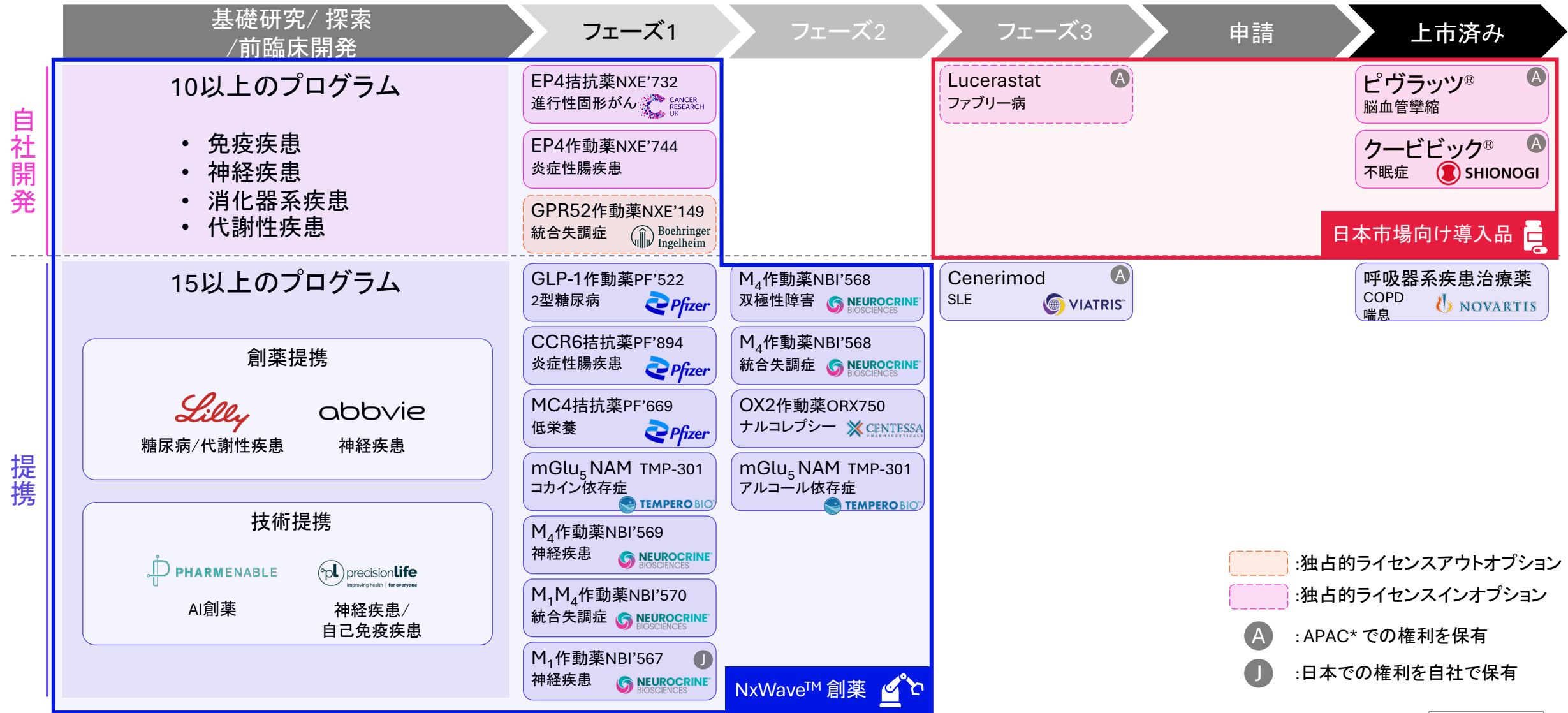
2025年に見込まれるイベント*

✓ : 2025年の進捗

開発プログラム	提携先	時期	イベント
✓ Cenerimod	 	2025年2月	日本・APAC（中国除く）の権利を譲渡
✓ TMP-301 (mGlu5 NAM)		2025年3月	アルコール依存症を対象としたフェーズ2試験開始
Lucerastat		2025年上期	オプション権行使の判断
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	2025年上期	進行性固形がんを対象としたフェーズ2a試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年上期	統合失調症を対象としたフェーズ3試験開始
NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年下期	双極性障害を対象としたフェーズ2試験開始
NBI'570 (M1/M4作動薬)		2025年下期	統合失調症を対象としたフェーズ2試験開始
NXE'744 (EP4受容体作動薬)		2025年下期	炎症性腸疾患を対象としたフェーズ2試験開始
NXE'149 (GPR52受容体作動薬)	 	2025年下期	フェーズ1b試験完了
NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)	 	2025年下期	フェーズ1b試験データ開示
ORX750 (OX2受容体作動薬)		2025年下期	フェーズ2試験データ取得 (NT1/NT2/特発性過眠症)
複数の創薬提携の進捗	 	2025年	創薬段階における開発の進捗
NBI'567 (M1作動薬) / NBI'569 (M4作動薬) / NBI'570 (M1/M4作動薬)		2025年	フェーズ1試験データ取得
✓ クービビック®		2025年2月	台湾における提携
新規グローバル導出・提携		随時	導出や創薬提携
Japan / APAC向け新規導入		随時	後期開発品の導入や買収
クービビック®		随時	APACでの導出

*提携先の進展については、パートナーからの開示等があったものに限って記載

主なパイプライン（事業カテゴリー）



: 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



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



既存事業の
成長

NxWave™ プラットフォーム創薬



- 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

日本市場向け導入品



- 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



サイエンスを武器に、商業的価値の高い領域で戦っていく

当社の上市済み製品

1

神経疾患 – 加齢に伴う疾患

ピヴラッツ®



– 脳動脈瘤によるくも膜下出血 (aSAH) 術後の脳血管攣縮発症抑制薬

2

神経疾患 – QOLに関する疾患

クービビック®



– 不眠症治療薬

2030年までに300~350億円の製品売上

(さらにその他複数プログラムの創薬/開発)

提携プログラム (当社独自/NxWave™を用いて創薬)

3

神経疾患 – 精神疾患 / 認知機能障害



– ムスカリン作動薬

4

神経疾患 – QOLに関する疾患 - 睡眠



– オレキシン2作動薬

5

代謝性疾患 – QOLに関する疾患 – 2型糖尿病 / 肥満



– GLP-1 作動薬

ピーク時には最大で2,500億円のロイヤリティ収入

(さらにその他複数のプログラムの創薬/開発)



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

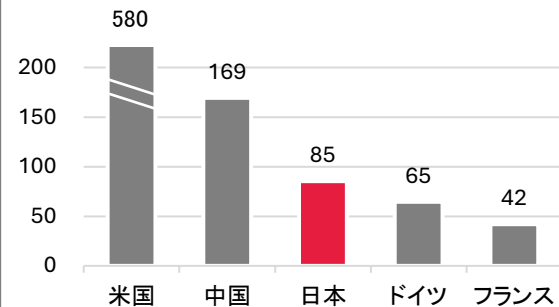
04

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 ”

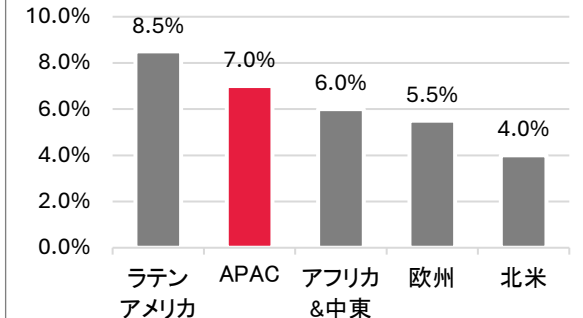


質の高い臨床試験/規制環境

- ✓ 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.

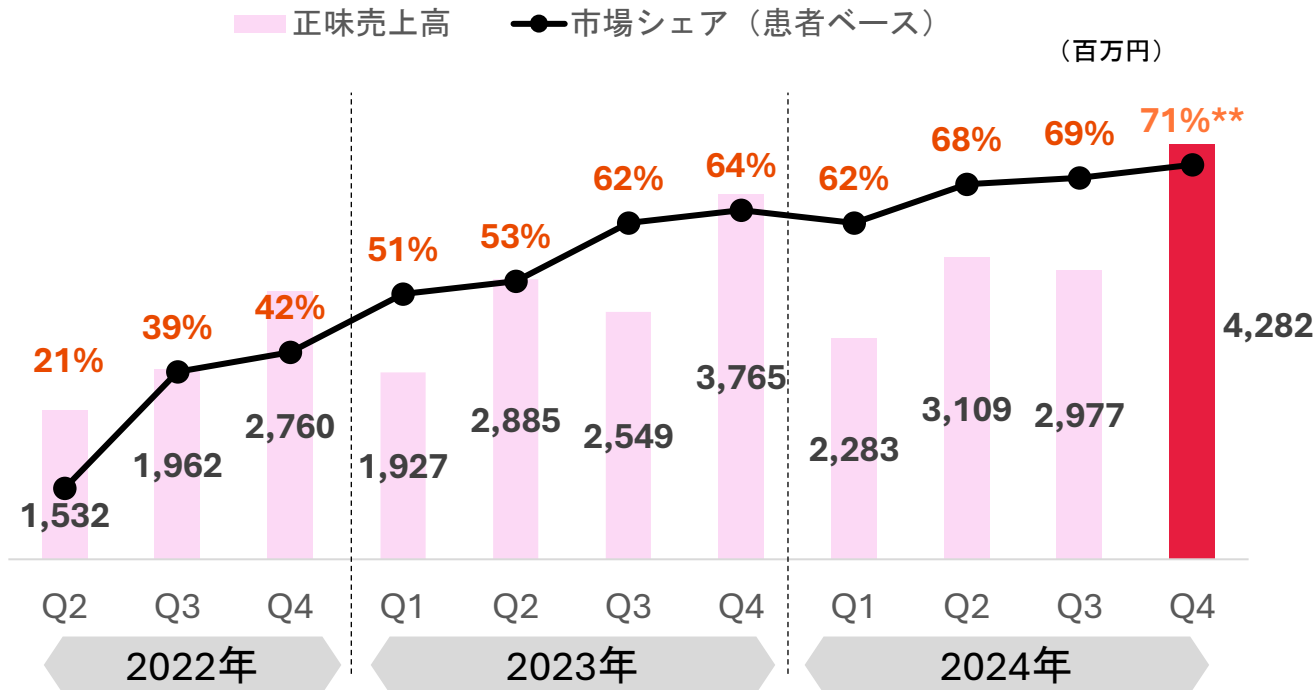
* APAC(中国を除く)には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む

ピヴラッツ® (クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬)

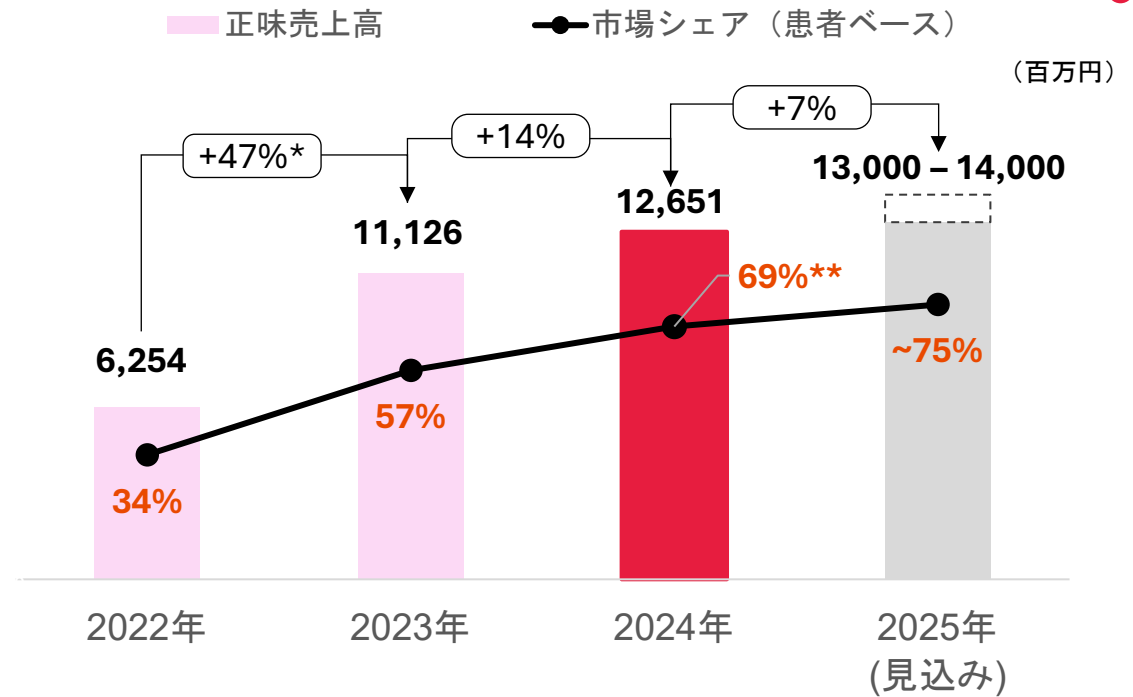
くも膜下出血 (aSAH) 術後の脳血管攣縮予防を目的とした当社初の上市製品



ピヴラッツ®の四半期売上



ピヴラッツ®の年間売上と成長率



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

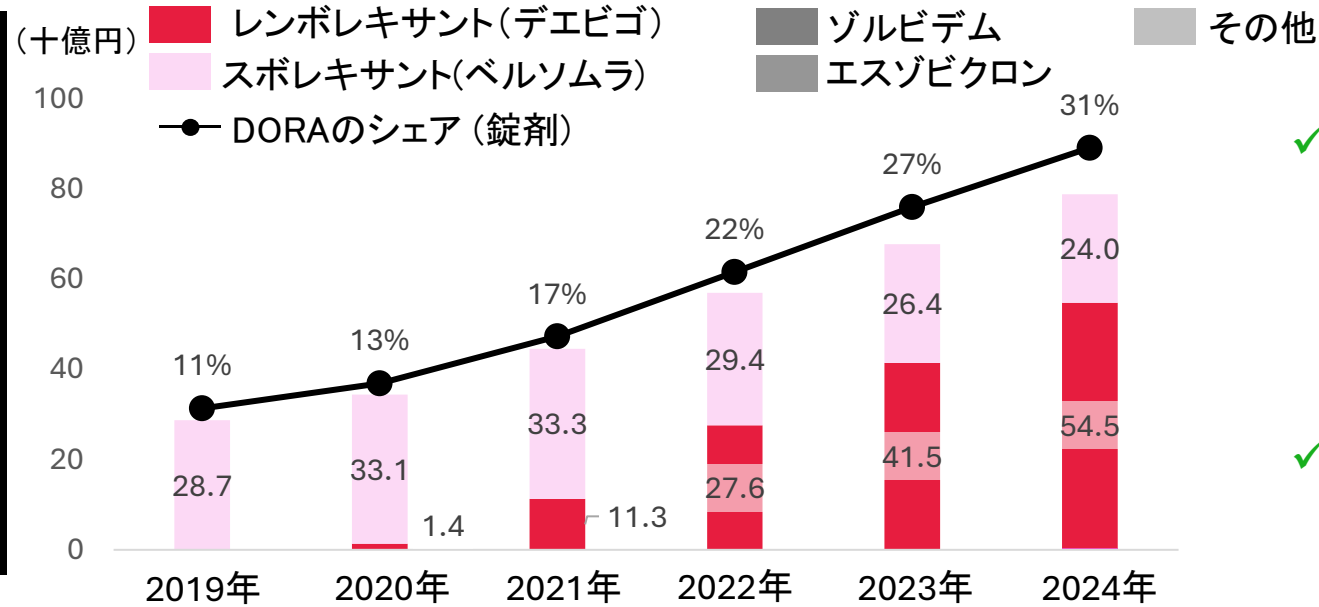
出所: MDV DPC hospital data
* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、** 推計値

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



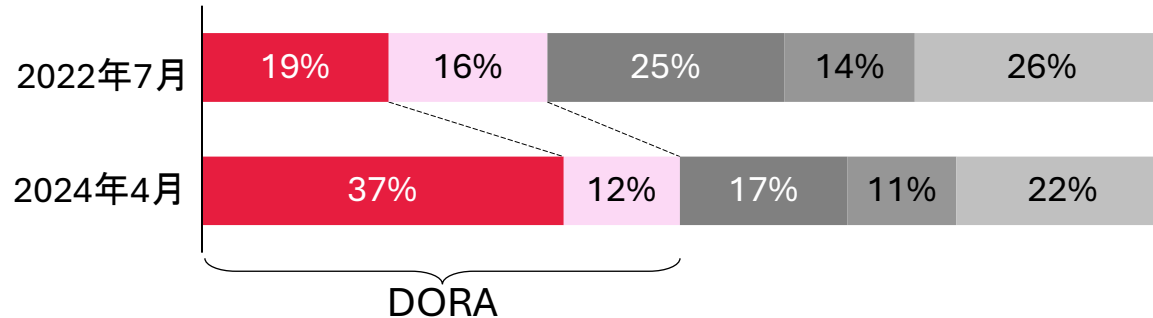
薬価ベース売上
および市場シェア



✓ 従来型の抗不安薬・睡眠薬が医師から敬遠される傾向にある日本において、DORAは急速に浸透中

✓ 日本は世界最大のDORA市場のひとつであり、その市場規模は最大10億ドル(約1,500億円)と推定される

処方頻度
(最も処方頻度の高い睡眠薬)



✓ パートナーの塩野義製薬とともに、クービビック®がベストインクラスの薬剤となることを目指す

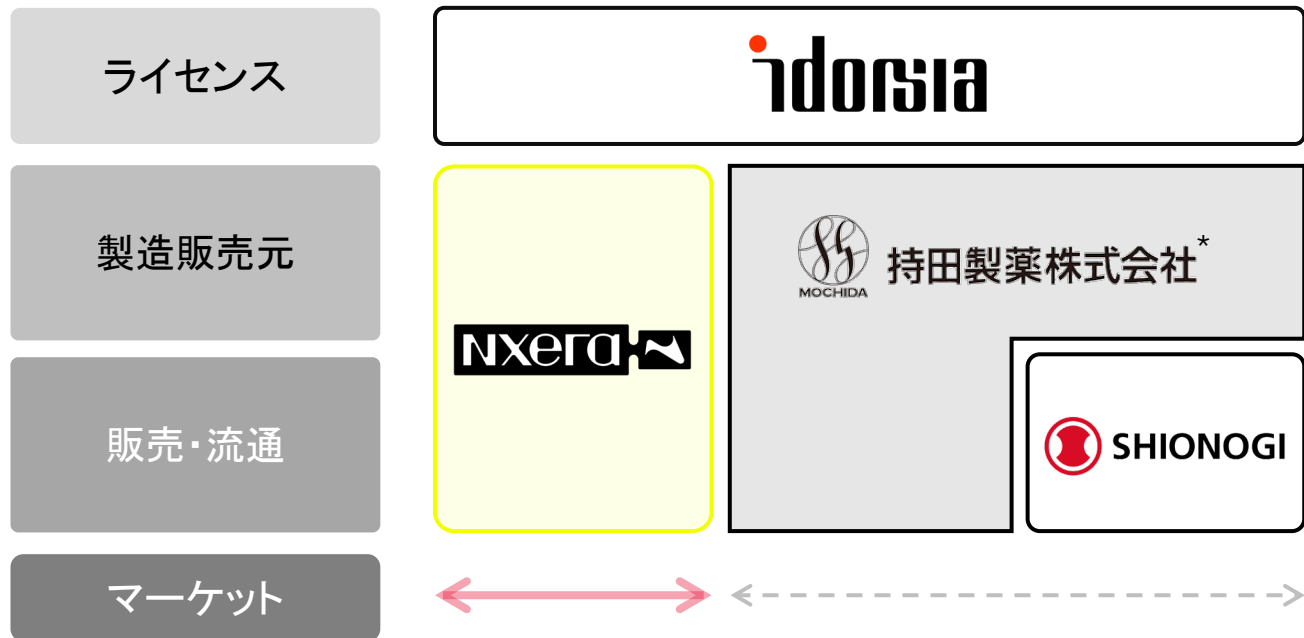


クービビック®: ビジネススキームの変更

塩野義製薬が日本国内の販売、流通を単独で担う



以前のスキーム (3社による販売 / 2つのチャンネル)



自社のコストで
市場の一部を開拓

新たなスキーム (1社単独販売 / 1つのチャンネル)



自社のコストなしに
市場全体からロイヤリティ収入

* 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、2024年12月19日に上市。ベストインクラスの薬剤を目指す




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

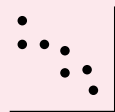
クービビック®の特徴

 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.



ピヴラッツ®およびクービビック®の2025年の売上ガイダンス

ピヴラッツは正味売上高で130~140億円、クービビックはロイヤリティと製品供給で40~50億円を目指す



2025年の
売上目標

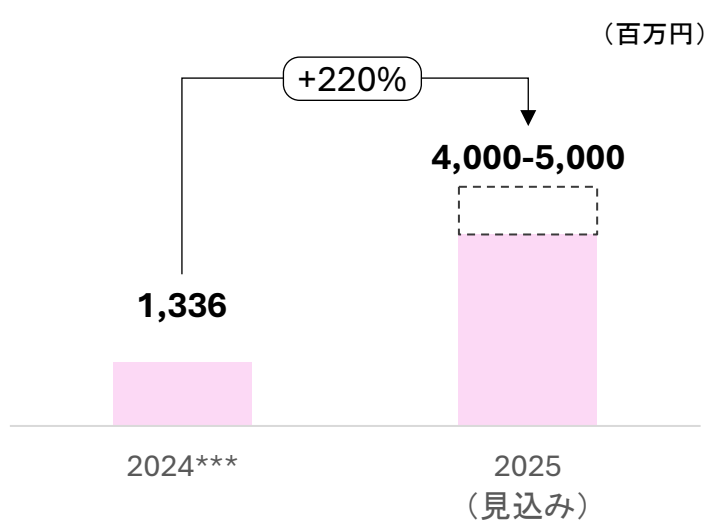
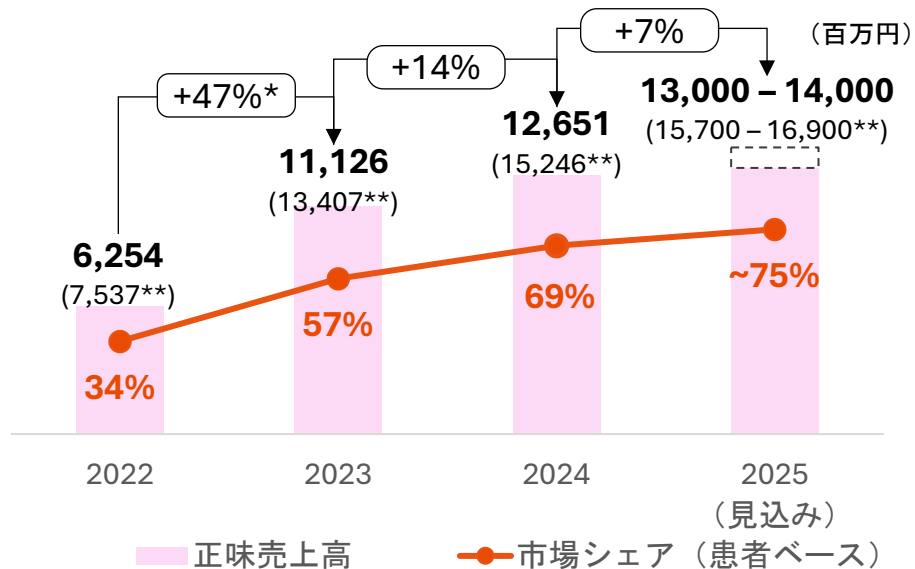
売上推移

130~140億円
(薬価ベース : 157~169億円)

+7%

40~50億円

+220%



出所: MDV DPC hospital data

* 2022年と2023年のQ2-Q4の比較、**薬価ベースの売り上げ ***2024年は契約一時金・マイルストーン・ロイヤリティ・製品供給による売り上げ、2025年はロイヤリティと製品供給による売り上げ





創薬プラットフォーム

最先端のサイエンス

05



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GPCR²

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

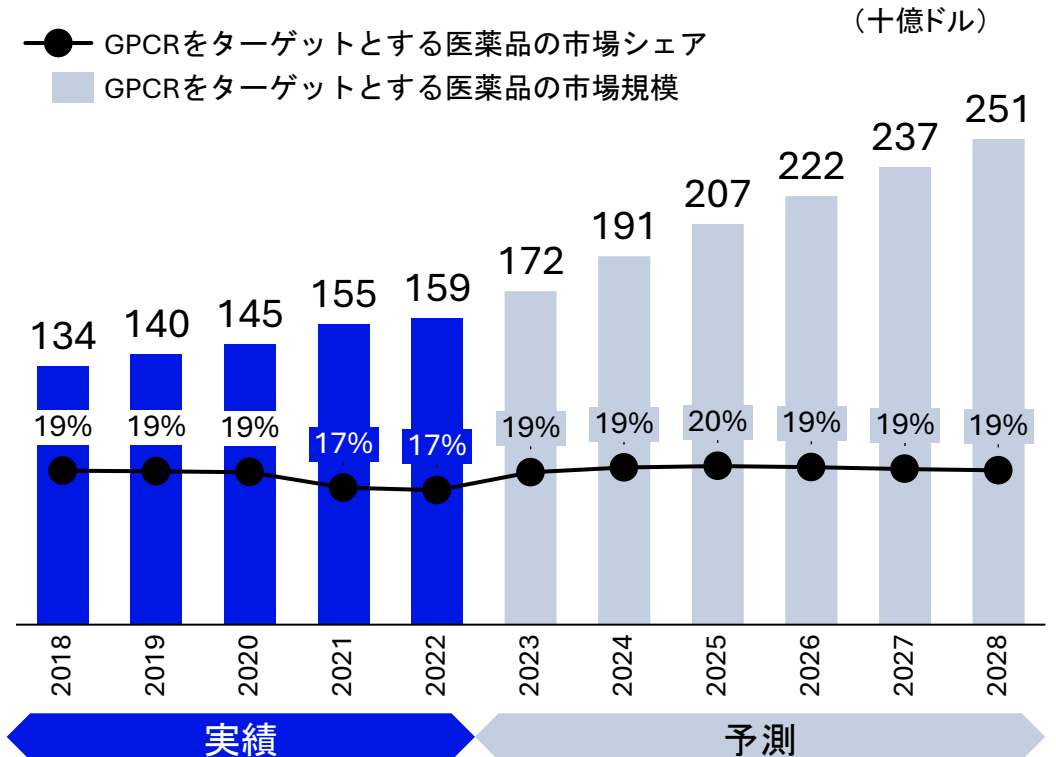
がん

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



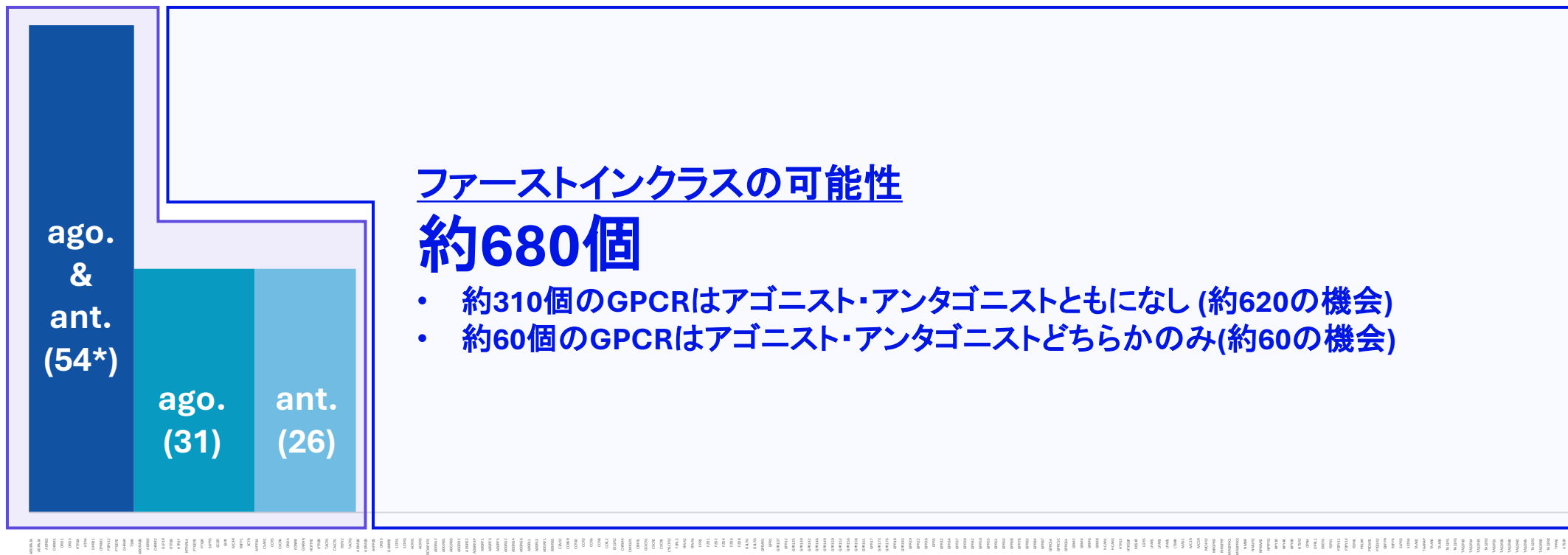
GPCRをターゲットとする医薬品は、
市場全体の20%を占めている



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コツが残る

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





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

世界をリードするサイエンス・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)	NxWave™プラットフォーム 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

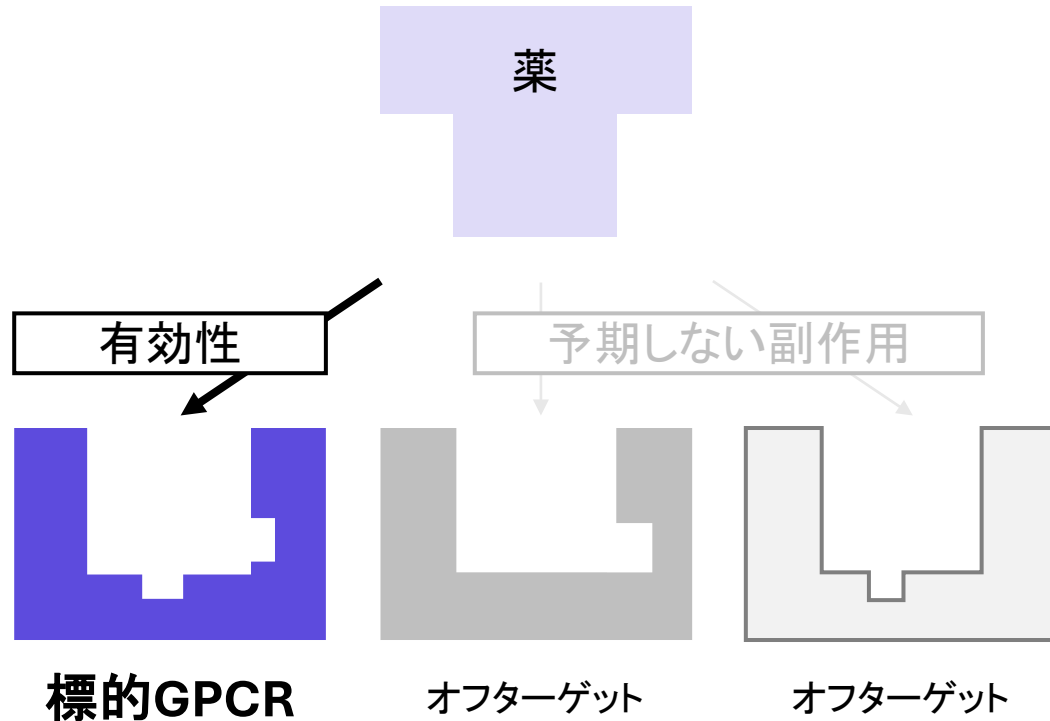


当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

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

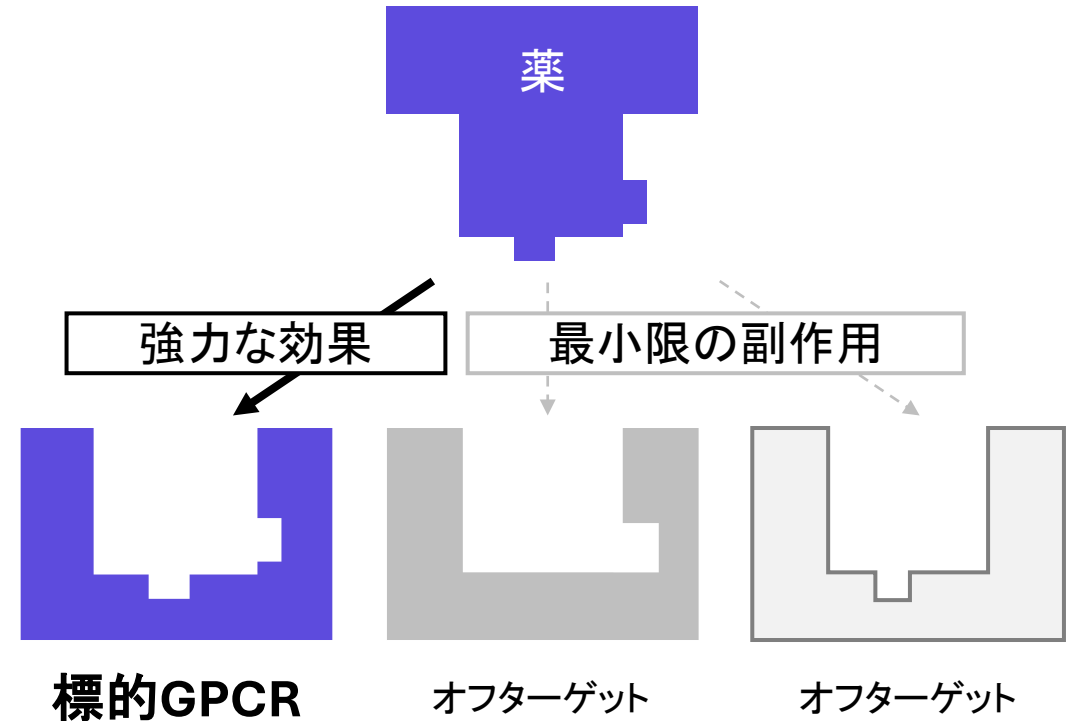
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

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)をよく知ることによって選択性が上がり、有効性を高め副作用を最小化できる

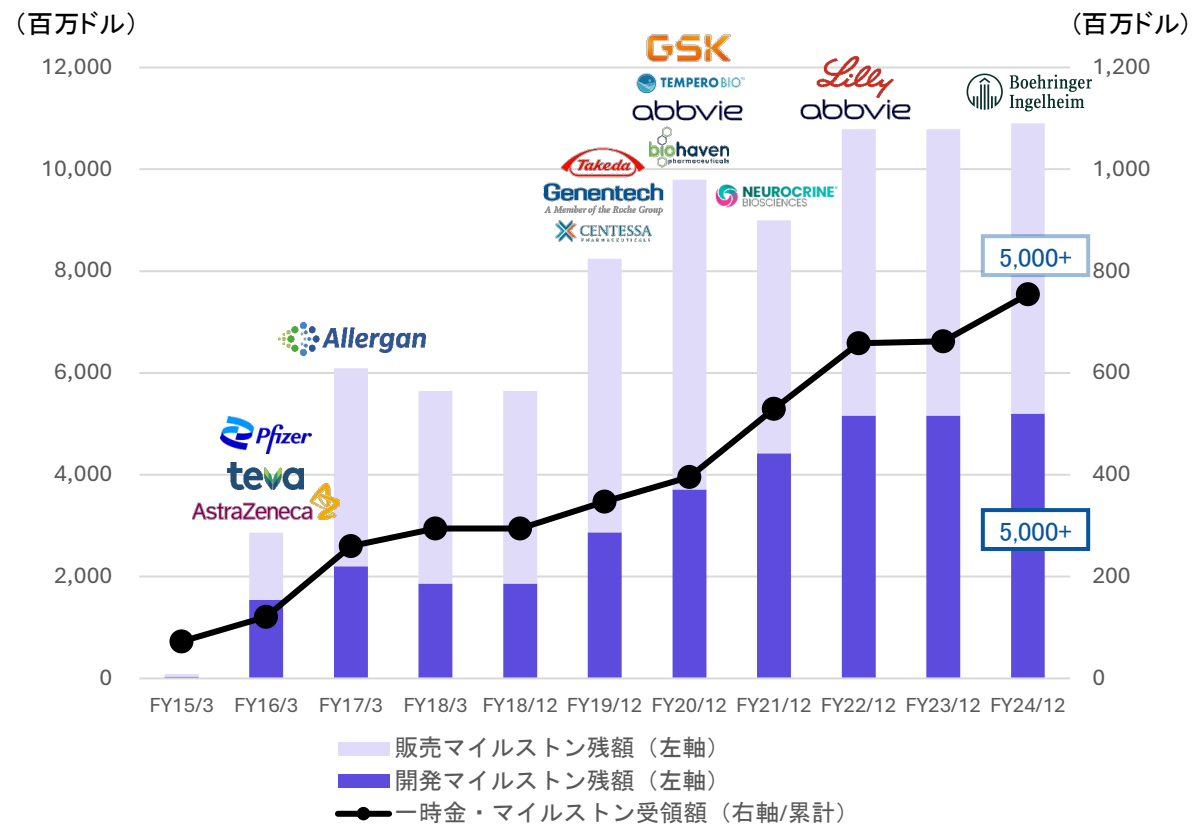




グローバルの大手製薬との豊富な取引実績があり…

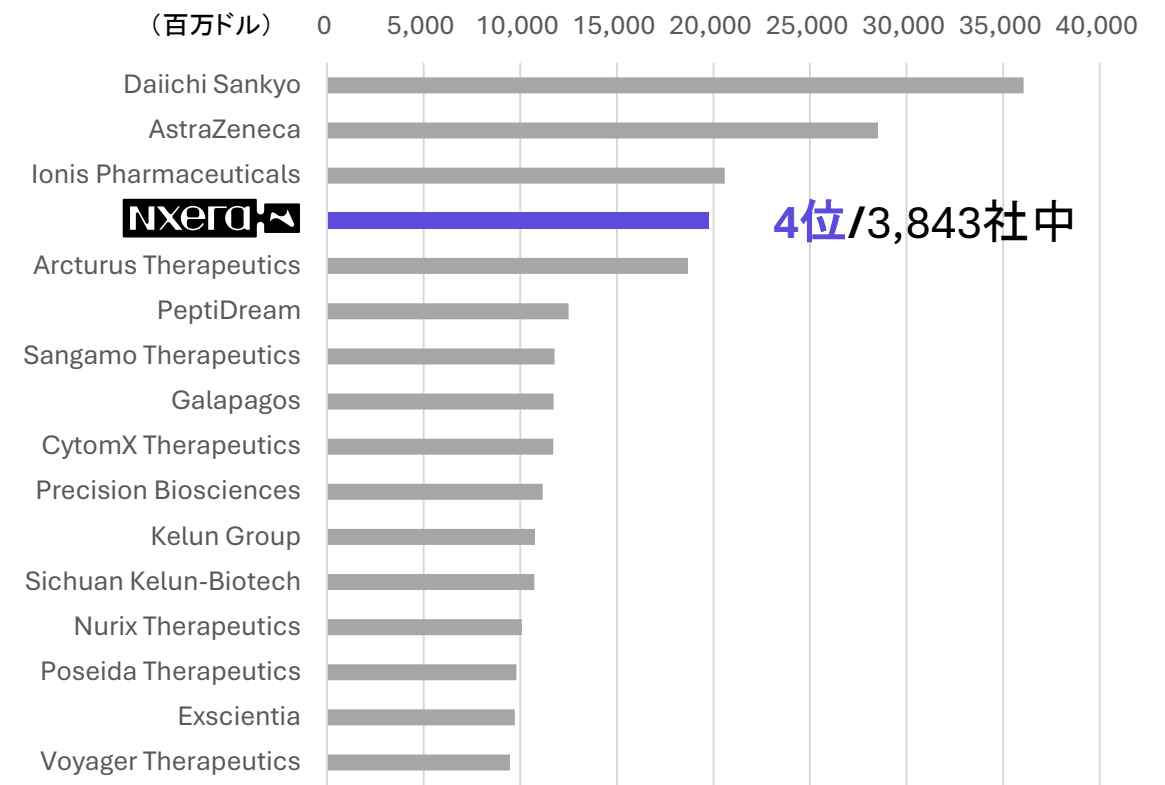
既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

既存契約のマイルストーン残高推移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)





… 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 初期マイルストーン	マイルストーン総額 (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 <small>A Member of the Roche Group</small>	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。



NBI'568は2024年下期にフェーズ2試験で良好な結果を達成

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
統計的にも有意な有効性
(1日1回の20mg投与)

➤ PANSS合計スコアの変化幅	-18.2
➤ PANSS合計スコアの変化幅(プラセボとの差)	-7.5 (p = 0.011)
➤ 効果量	0.61
➤ Marder因子スコアの変化幅(プラセボとの差):	
• 陽性症状	-3.0 (p=0.004)
• 陰性症状	-1.9 (p=0.028)

主要評価項目および追加評価項目を達成し、陽性症状および陰性症状の両方に対する有効性が認められた

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%)
➤ 消化器(GI)・心血管(CV)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

NBI'568のすべての投与量で安全性および忍容性が示された

早急にフェーズ3試験
を開始予定

➤ フェーズ2試験の良好な結果からマイルストーン受領	35百万ドル
➤ フェーズ3試験	2025年上期開始予定
➤ 双極性障害を対象としたフェーズ2試験	2025年下期開始予定
➤ ムスカリン作動薬ポートフォリオの <u>後続化合物を開発中</u>	

ムスカリン作動薬ポートフォリオの可能性が拡大

出所: ニューロクライン社プレゼンテーション資料(2024年8月28日)、KarXT for Schizophrenia draft evidence report(2023年11月28日)



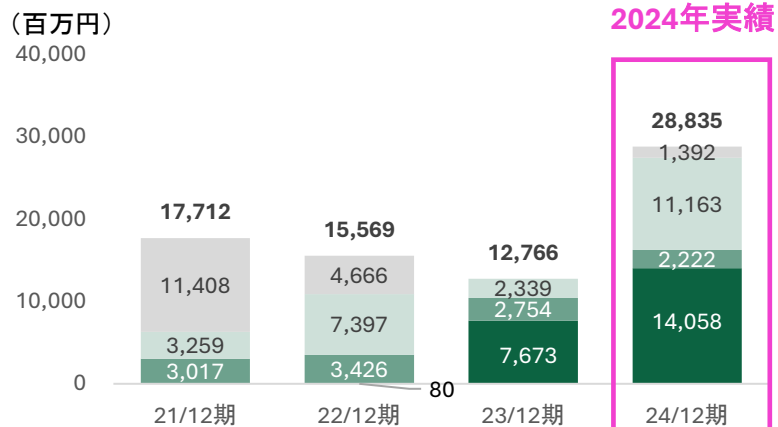
最新の連結業績



主要決算数値

NPJ/NPKの製品販売とコストベースが通期で加算。提携プログラムが大きく進展しマイルストーンが増加

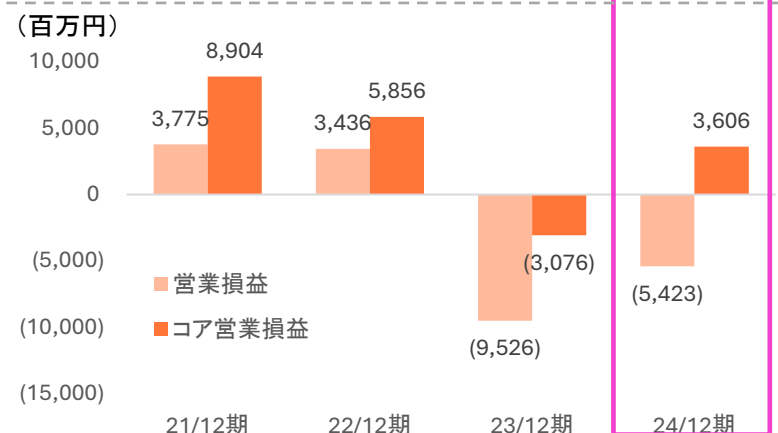
売上収益



主な変動要因

- 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)
- マイルストーン²**
 - M4進展によるニューロクライン社からマイルストーン15百万ドル(4月)
 - アッヴィ社からマイルストーン10百万ドル(6月)
 - M4のフェーズ2試験成功によりニューロクライン社からマイルストーン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®の販売額が増加し、2024年は通期で寄与

営業損益



- 研究開発費**
 - 臨床試験のための研究開発活動への投資増
 - NPJ/NPKの研究開発費が通期で加算
- 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®の在庫分に対して売上原価に加算
- 販売費及び一般管理費**
 - NPJ/NPK関連の管理費が増加
 - 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

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が2024年は通年で影響

(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	14,847		13,988		28,835						28,835
売上原価 + 販売費及び 一般管理費	(7,015)		(8,963)		(15,978)		A (2,401) 売上原価調整額				(23,630)
							B (1,362) 無形資産の償却費		C (1,160) 統合関連費用		
							D (2,730) その他				(11,816)
研究開発費	(9,258)		(1,242)		(10,500)		D (1,316)				(11,816)
その他収益	1,272		(23)		1,249		D (60)				1,189
営業損益	(154)		3,760		コア営業損益 3,606		合計: 9,029			OP	(5,423)

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1,800百万円程度を見込む。
- 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

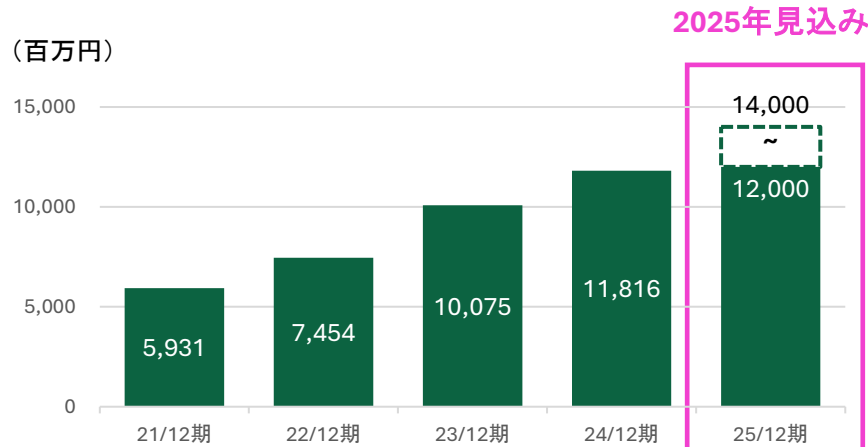
*1 = ネクセラファーマ株式会社(旧そーせいグループ株式会社) + Nxera Pharma UK Ltd(旧Heptares Therapeutics Ltd.) + 旧株式会社そーせい

*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)



2025年12月期の費用見込み

開発段階の進展や後期品獲得を見込み研究開発費はやや増加、販管費は効率化によりやや減少～フラットを見込む

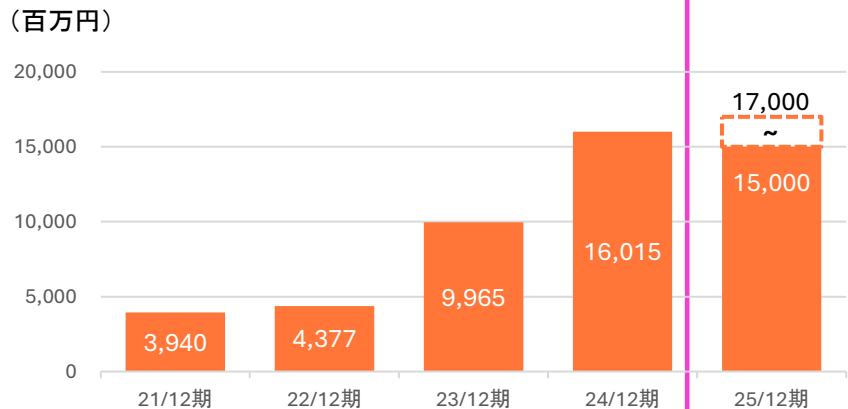


研究開発費 (IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円

主なポイント

- プラットフォーム技術に引き続き投資
- 自社開発プログラム (EP4拮抗薬、EP4作動薬、GPR52作動薬) の臨床開発がフェーズ1b～2試験に移行
- 日本での後期開発品獲得・開発費用を見込む



販売費及び一般管理費 (IFRSベース)

15,000百万円～17,000百万円

主なポイント

- 今後のグループ成長を見据え、ITによる効率化に投資
- クービビック®販売開始に伴い、無形資産の償却費が増加
- 経費使用の効率化で、全体としてはやや減少～フラットを見込む

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5品目を日本およびAPAC向けに開発できるオプション権を保有

	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	Lucerastat	グルコシルセラミド合成酵素阻害薬	ファブリー病	フェーズ3	APAC地域 (中国を除く) ¹
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	フェーズ2*	
	ACT-1014-6470	C5aR1 拮抗薬	免疫介在性疾患	フェーズ1*	
	IDOR-1117-2520	非開示	免疫介在性疾患	フェーズ1*	
	ACT-777991	CXCR3 拮抗薬	発症早期の1型糖尿病	フェーズ1*	

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)

	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 ²	患者数	ピーク売上高		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 ¹	-	-	mGlu5 NAM
	ナルコレプシー	約300万人	25億ドル (2024)	14億ドル (2024/Xywav)	OX2 作動薬
免疫疾患	がん	約4,200万人	2,105億ドル (2024)	287億ドル (2024/Keytruda)	EP4 拮抗薬
	炎症性腸疾患	約1,000万人	238億ドル (2024)	62億ドル (2022/Humira)	CCR6 拮抗薬、GPR35 作動薬、EP4 作動薬
	全身性エリテマトーデス	約500万人	27億ドル (2024)	19億ドル (2024/Benlysta)	Cenerimod
代謝性疾患	2型糖尿病/肥満	約4.2億人	768億ドル (2024)	182億ドル (2024/Ozempic)	GLP1 作動薬
	拒食症	約1,000万人	-	-	MC4 拮抗薬
合計			約3,440億ドル/年	約660億ドル/年	

出所(患者数): World Health Organization, Evaluate Pharma, The European Federation of Crohn's & Ulcerative Colitis Associations (EFCCA), Narcolepsy Network, Inc., The Lupus Foundation of America, 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(2024年12月25日時点)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



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	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
提携											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティプロ®	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	■	■	■	■	■	■	■
Cenerimod	S1P ₁ 受容体モジュレーター	低分子	SLE	VIATRIS™	■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117568	ムスカリンM4作動薬	低分子	統合失調症	NEUROCRINE BIOSCIENCES	■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117568	ムスカリンM4作動薬	低分子	双極性障害	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 <small>A Member of the Roche Group</small>	■	■	■	■	■	■	■
(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®、ウルティプロ®、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	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
共同開発											
KY1051	CXCR4 mAb	モノクローナル抗体	がん免疫		■						
(Not disclosed)	AI-Augmented Drug Discovery	低分子	神経疾患/免疫疾患		■						
(Not disclosed)	Multi targe	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患		■						
共同出資											
TMP-301	mGlu5 NAM	低分子	アルコール依存症		■	■	■				
TMP-301	mGlu5 NAM	低分子	コカイン依存症		■	■	■				
ORX750	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー1/2型、IH		■	■	■				
ORX142	OX2作動薬(経口)	低分子	精神疾患の日中の過度の眠気		■	■	■				
ORX489	OX2作動薬(経口)	低分子	神経疾患		■	■	■				

Note: SME = small molecule. LME = large molecule



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	基礎	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	販売
自社開発品											
ピヴラッツ®	ETA 拮抗薬	低分子	脳血管攣縮								
クービック®	デュアルオレキシン受容体拮抗薬	低分子	不眠症								
NXE0048149 ¹	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	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



臨床試験

タイプ	開発品目	作用機序	対象疾患名	開発段階	被験者数	患者対象	開始日	終了日*	最終更新日	リンク（主/最新）	リンク（その他）
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph2	210	Yes	2022-10-04	2024-07-10	2024-09-27	NCT05545111	-
導出	NBI-1117569	M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	NBI-1117570	M1/M4 作動薬	神経疾患	Ph1	-	No	2024-03-11	2025-09-04	2024-10-30	2023-508814-40-00	-
導出	NBI-1117567	M1 作動薬	神経疾患	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	PF-07054894	CCR6 拮抗薬	炎症性腸疾患	Ph1	27	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2025-03-25	NCT05549323	NCT06327880 NCT04388878
導出	PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	14	No	2025-01-02	2025-02-11	2024-11-27	NCT06706869	NCT04628793 NCT05113940
導出	PF-06954522	GLP-1 作動薬	2型糖尿病/肥満	Ph1	45	Yes	2024-02-20	2025-04-07	2025-02-12	NCT06279234	NCT06393517 NCT06003777
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	アルコール依存症	Ph2	100	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2024-12-19	NCT06648655	-
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	コカイン依存症	Ph1	18	Yes	2025-01-04	2025-08-15	2025-03-25	NCT06648668	-
導出	ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	78	Yes	2024-12-23	2025-12	2024-12-31	NCT06752668	-
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-06-07	2025-11-15	2024-09-23	ISRCTN44913564	ISRCTN17231793
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	150	Yes	2023-07-13	2026-09	2024-12-02	NCT05944237	-
自社	NXE0033744	EP4 作動薬	炎症性腸疾患	Ph1	最大220	-	2023-11-24	2026-06-30	2024-02-15	ISRCTN70080074	-

* 主要評価項目完了日(見込)



為替レート、無形資産およびノンコア費用

期中平均為替レート

		2025年	2024年	2023年	2022年
USD:JPY	実績	-	151.43	140.53	131.30
	期初予想	152	140	143	
GRP:JPY	実績	-	193.49	174.81	161.76
	期初予想	193	172	166	

無形資産 (百万円)

	2024年末	2023年末	2022年末
ピヴラッツ®	36,164	37,527	-
創薬プラットフォーム	8,365	8,466	8,217
クービビック®	6,825	5,825	-
顧客関連	227	227	219
オラビ®	78	89	101
その他	252	157	40
合計	51,911	52,291	8,577

ノンコア費用 (通期) (百万円)

	2024年	2023年	2022年
売上原価調整額	2,401	1,812	-
無形資産の償却費	2,371	1,495	782
企業買収関連費用	1,220	1,263	-
有形資産の償却費	1,613	983	563
株式報酬費用	1,396	844	542
構造改革費用	28	53	533
減損損失	-	-	-
合計	9,029	6,450	2,420



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事が知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
NxSta TM	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



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