



コーポレートプレゼンテーション

2025年10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。

- 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



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

事業概要

280億円

年間収益

350億円

手元現金

400名以上

グローバル拠点
5カ所の従業員数

4565 (コード)

東京証券取引所
プライム市場

6%超

日本の政府系ファンド
による長期保有

製品とプログラム

上市済製品

3

日本

1

グローバル
(提携)

臨床段階 (グローバル)

13

提携プログラム

3

自社開発プログラム

創薬段階

20以上

自社開発または
提携プログラム

重点疾患分野とサイエンス

市場規模

18兆円以上

精神神経疾患

23兆円以上

代謝性疾患

45兆円以上

免疫疾患/
消化器系疾患

100個以上

「NxWave™」
プラットフォームによる
構造解析数

1,500件

取得特許数



日本発の新しいバイオフィーマを目指す

グローバルの創薬拠点



研究と初期臨床開発

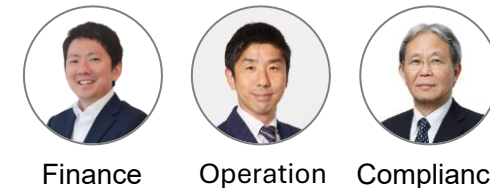
- ・ クライオ電顕でのノーベル賞受賞者が創業
- ・ 独自のNxStaR™およびNxWave™
- ・ 構造ベース創薬プラットフォーム

テクニカルオペレーション

- ・ グローバルCMCオペレーション
- ・ サプライチェーン
- ・ 品質管理

約200名の従業員

日本のオペレーションチーム



約200名の従業員

医薬品開発と商業化

- ・ グローバルでの経験を有するバイリンガル経営陣
- ・ アジャイルかつテクノロジーを駆使するチーム
- ・ 戦略的な商業化アプローチ

基盤技術や良質な人材へのアクセスを生かしグループ全体のビジネスを推進

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

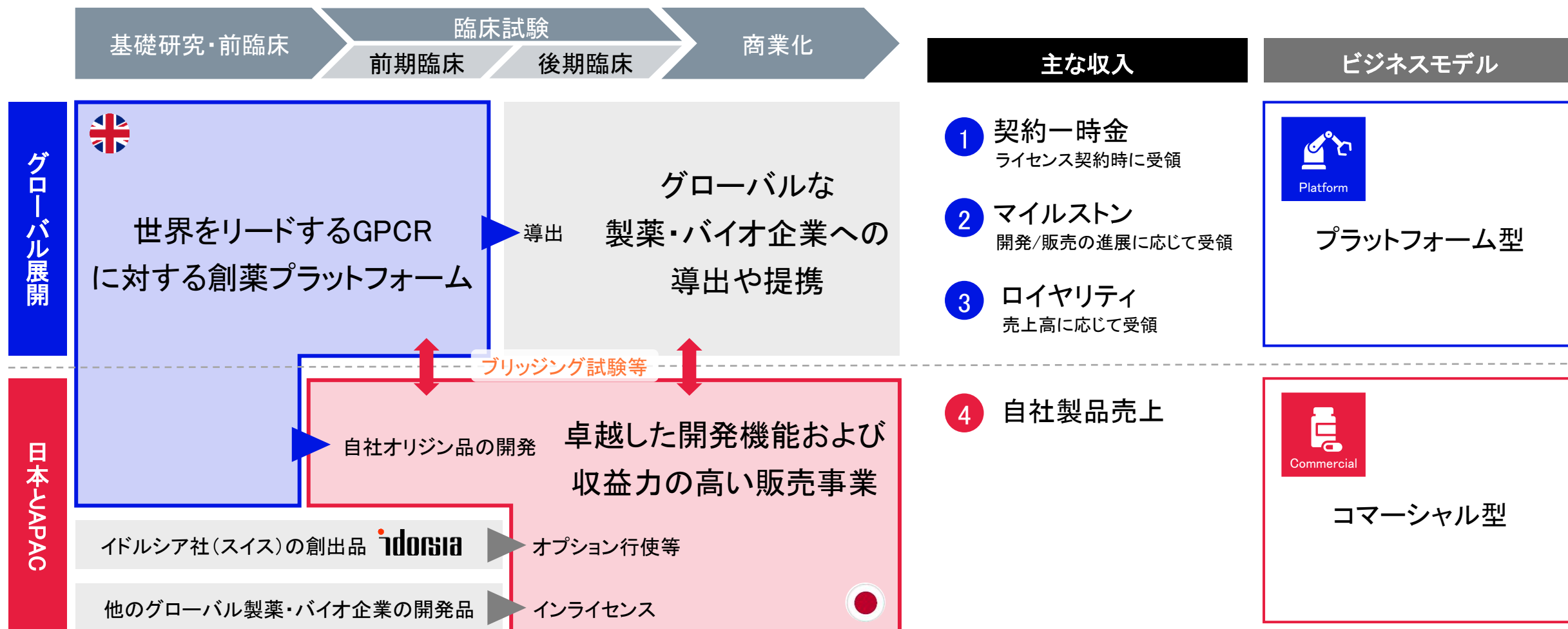
日本から
日本そして世界へ

NXera



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



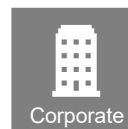
03

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



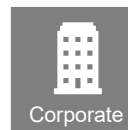
04

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)





パートナーが開発中のWave 1 & Wave 2は、市場規模の極めて大きな疾患領域を対象

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™ P2 mGlu5 NAM 物質使用障害  CENTESSA P2 Ox2 作動薬 ナルコレプシー  NEUROCRINE BIOSCIENCES P3 M4 作動薬 統合失調症 P2 M4 作動薬 双極性障害 P1 M4/M1 作動薬 統合失調症	 CENTESSA PHARMACEUTICALS 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 P1 M1 作動薬 認知機能障害、精神疾患  NXera 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	 P1 MC4 拮抗薬 低栄養	 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  NXera  CANCER RESEARCH UK P1 EP4拮抗薬+ PD-L1 進行性固形がんに対する免疫療法	 NXera P1 EP4 作動薬 炎症性腸疾患
		最大1,700億円(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



パイプライン

Programs by Design



03



事業概要

戦略ロードマップ

パイプライン

日本/APAC

プラットフォーム

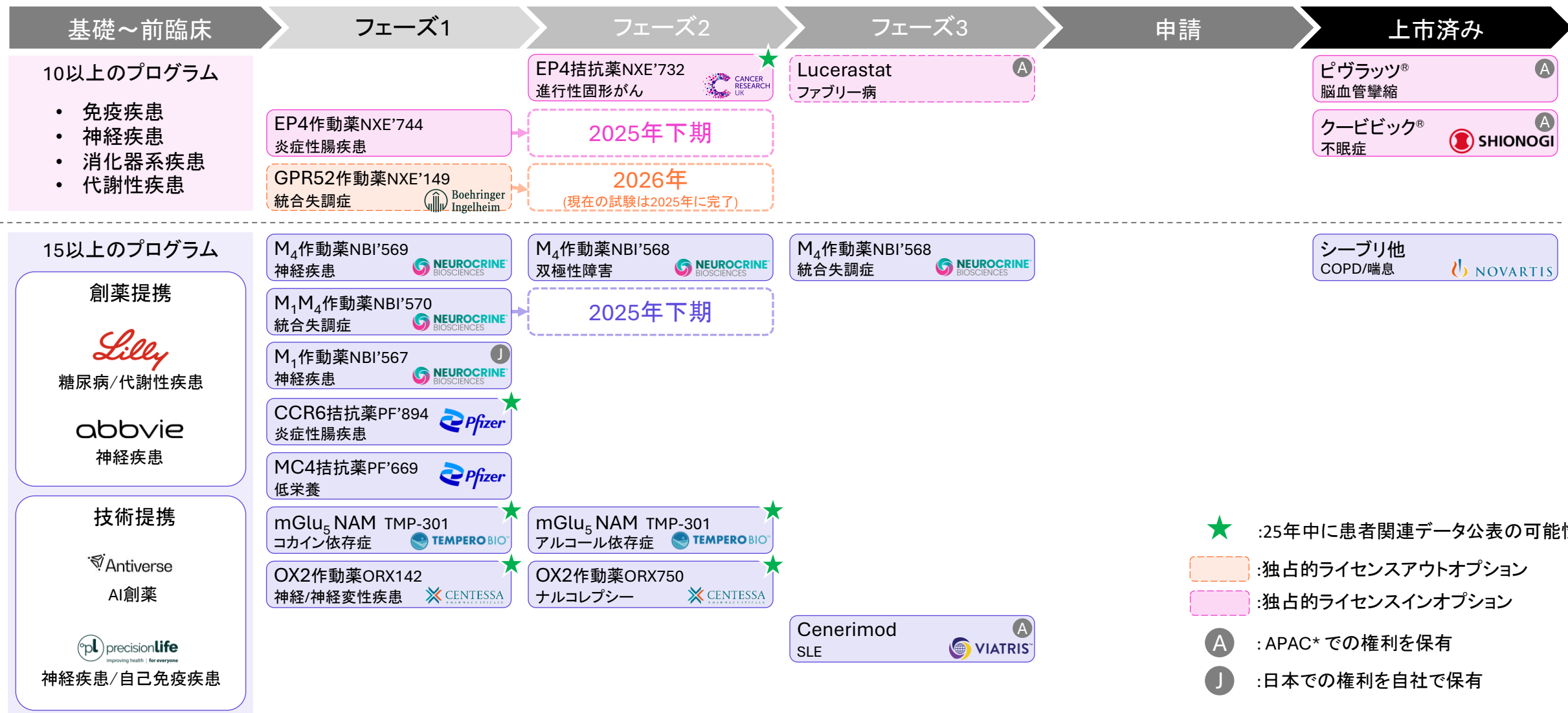
最新の業績

補足資料

主なパイプライン(今後の見通し含む)

自社開発

提携



★ :25年中に患者関連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/IIa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。



事業概要

戦略ロードマップ

パイプライン

日本/APAC

プラットフォーム

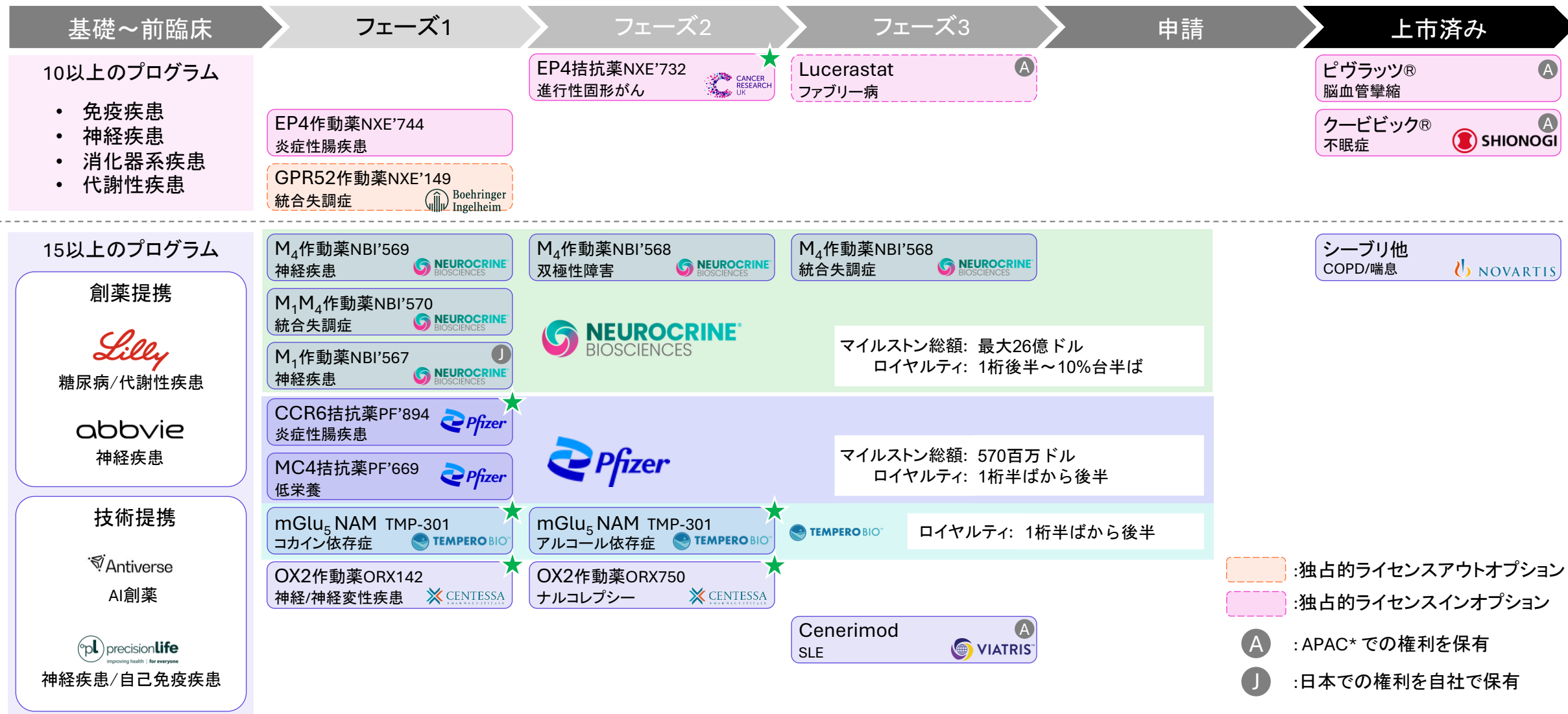
最新の業績

補足資料

主なパイプライン(主要パートナーハイライト)

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

*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/IIa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。

提携



ИХЕГА



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
✓ NBI'568 (M4受容体作動薬)		2025年4月	統合失調症を対象としたフェーズ3試験開始
✓ NXE'732 (EP4受容体拮抗薬)		2025年9月	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 (ESMO)
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)
Lucerastat		2025年下期	オプション権行使の判断
TMP-301 (mGlu5 NAM)		2025年末	アルコール依存症を対象としたフェーズ2試験結果
✓ 複数の創薬提携の進捗		2025年6月/9月	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



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・APACコマーシャル事業



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

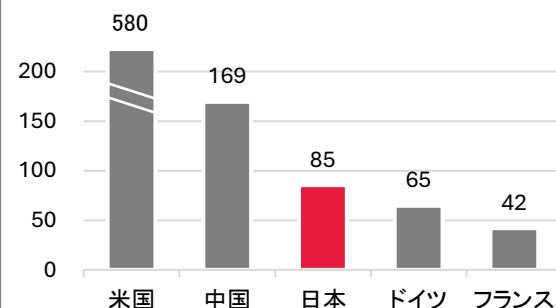


日本はAPAC市場進出への拠点

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 ”

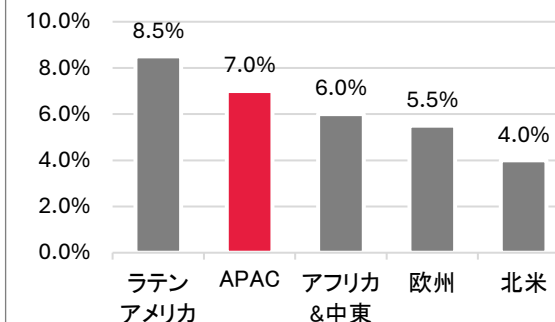


質の高い臨床試験/規制環境

- ✓ 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

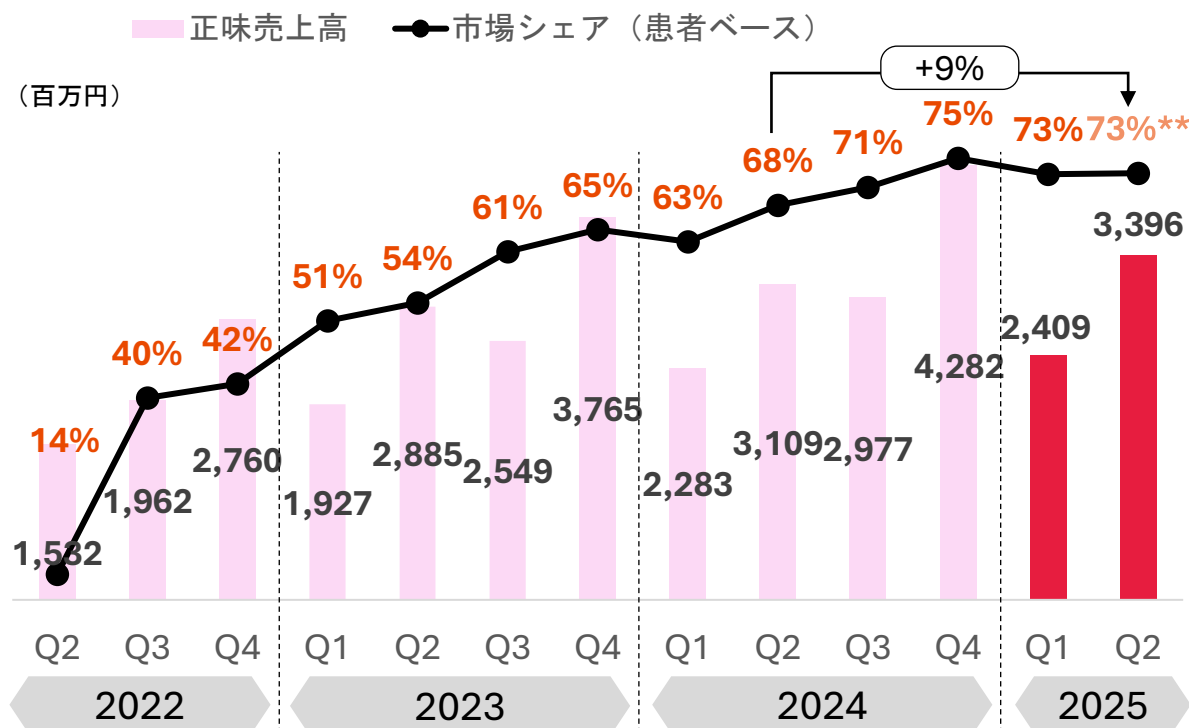


ピヴラッツ® (クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬)

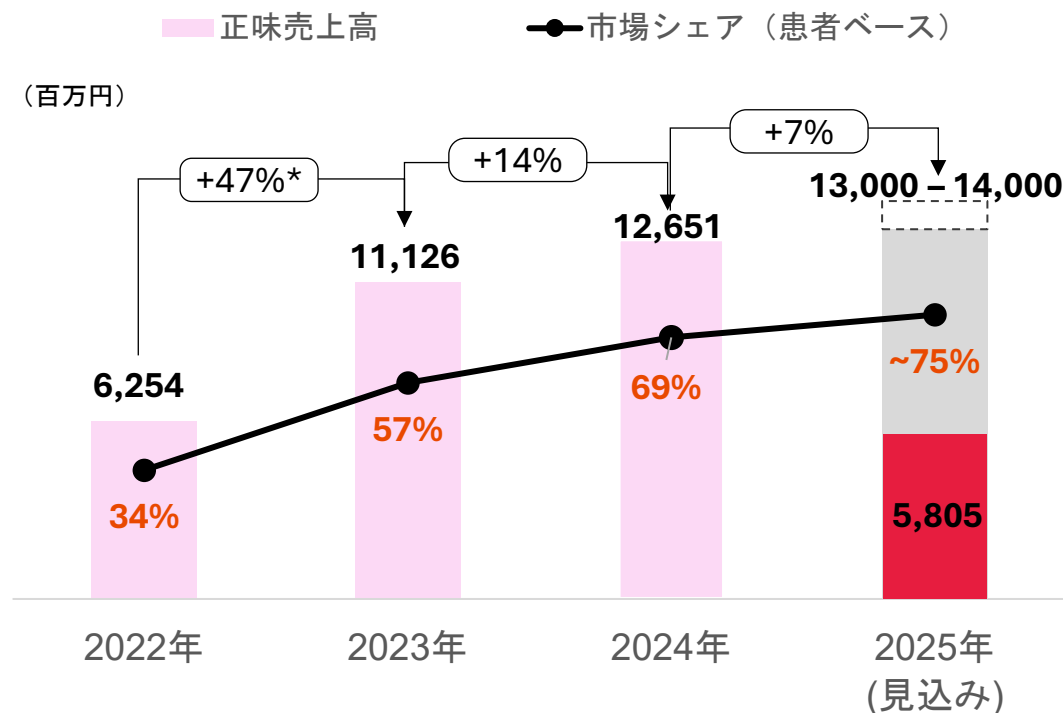
くも膜下出血(aSAH)術後の脳血管攣縮予防を目的とした当社初の上市製品



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



会社計画に対して順調な進捗



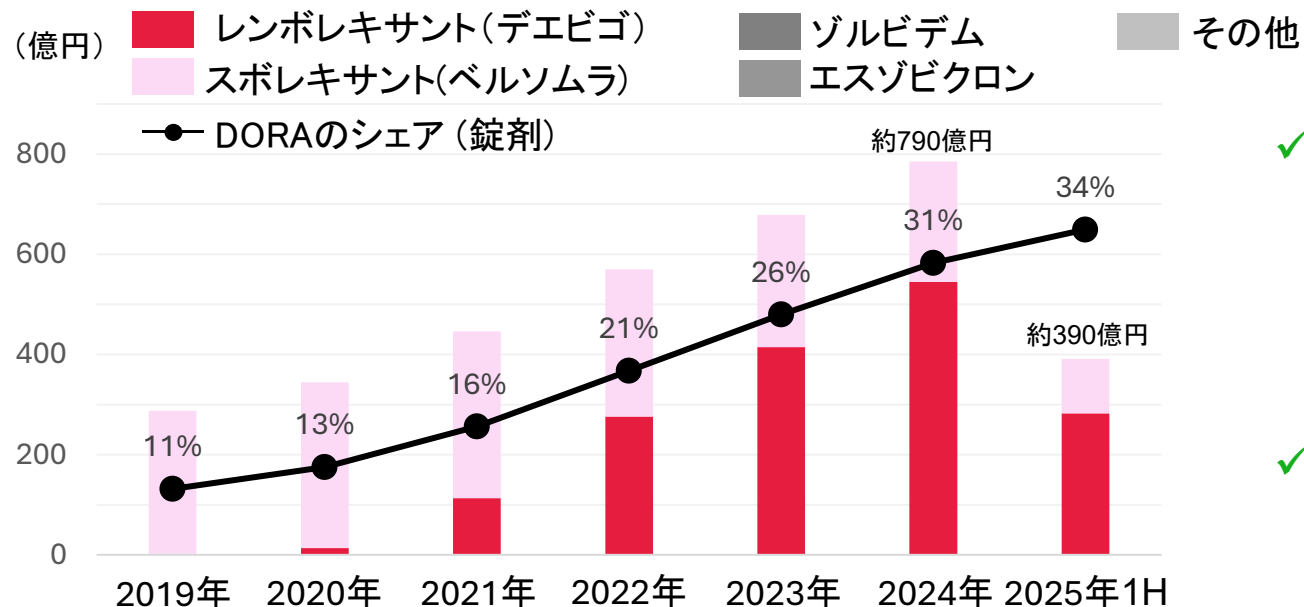
クービビック®*: 新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)

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

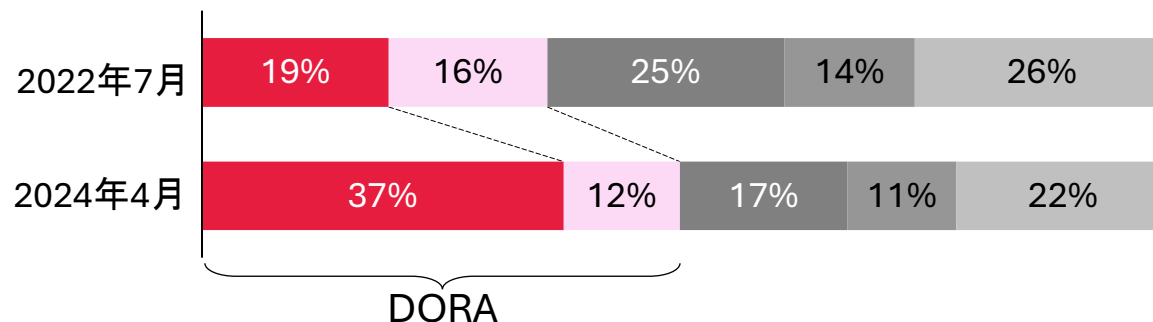
処方頻度
(最も処方頻度の
高い睡眠薬)



✓ 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

✓ 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





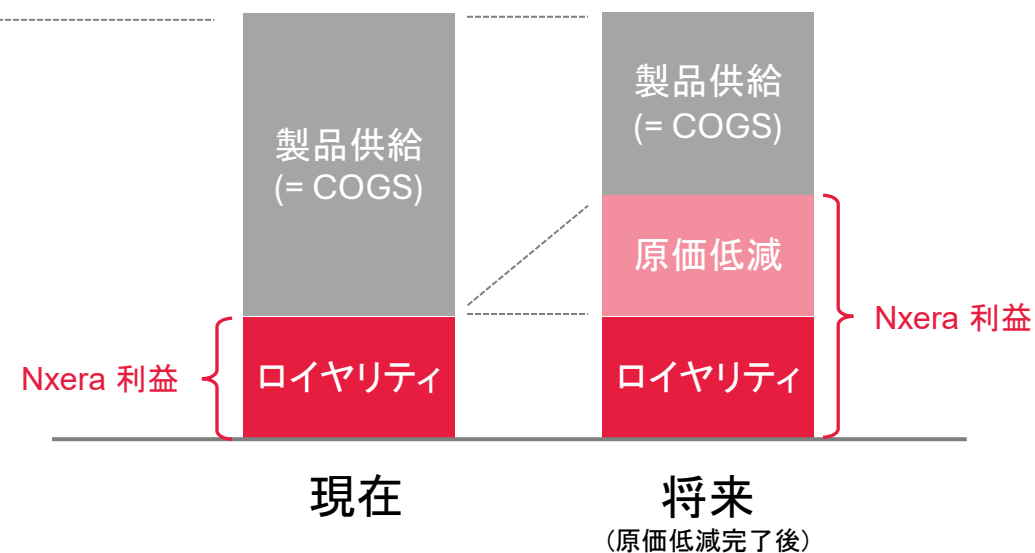
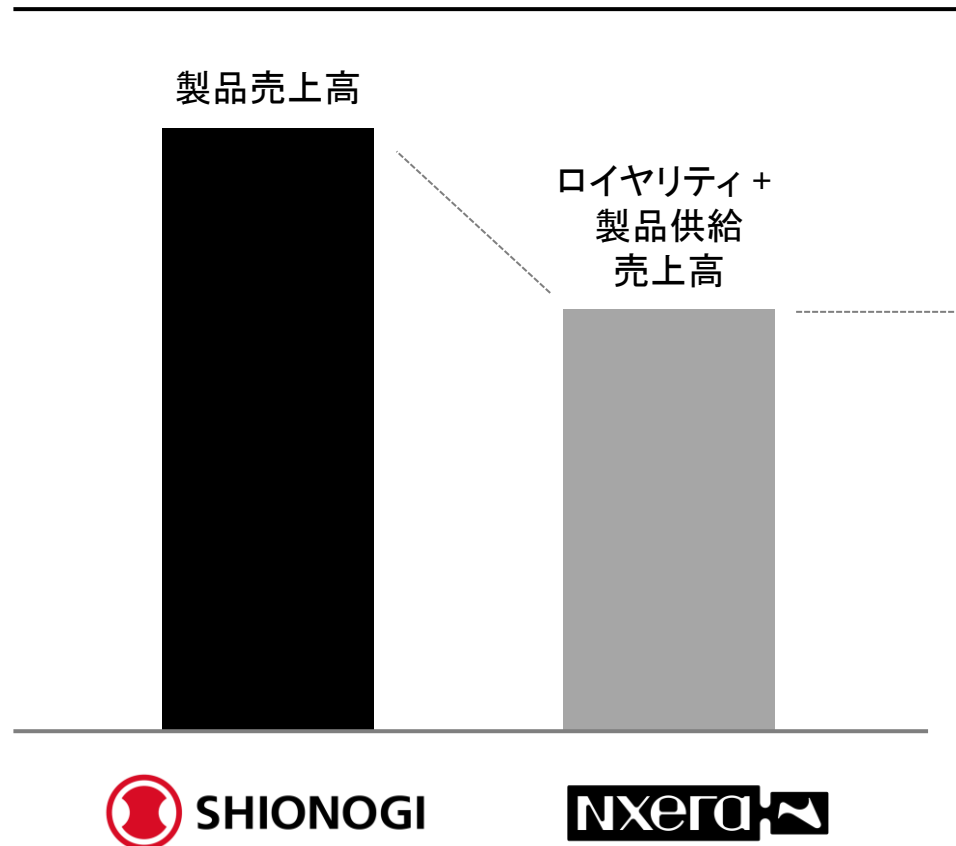
クービビック®の売上・利益構造のイメージ

利益は当面はロイヤリティ収入によるが、将来は原価低減効果による利益増大が寄与



売上構造

当社の利益構造





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



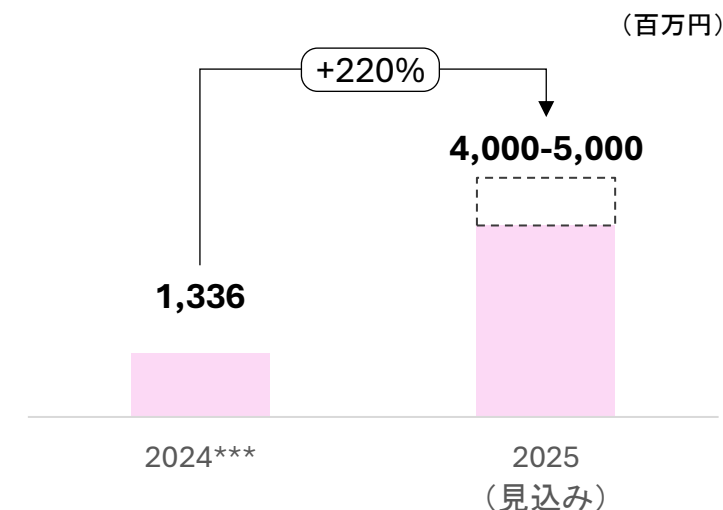
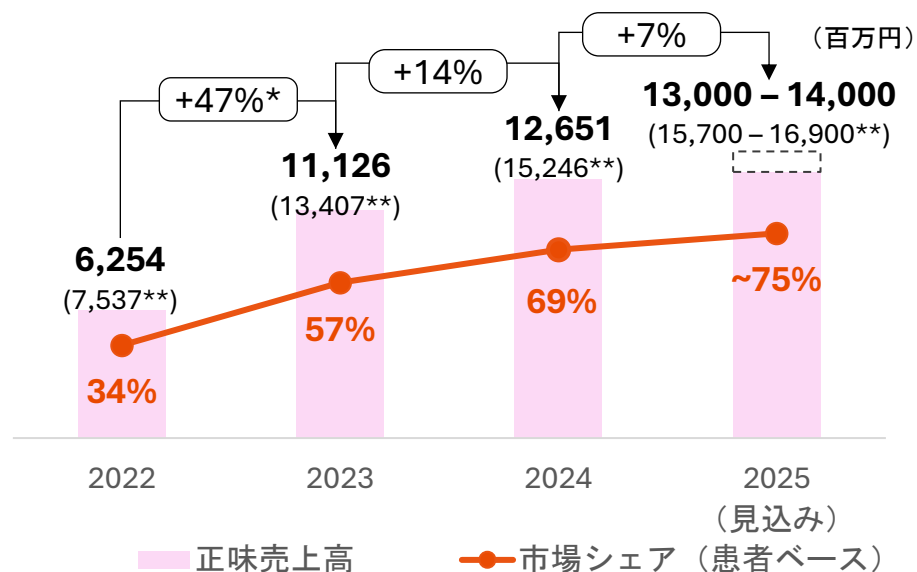
130～140億円
(薬価ベース：157～169億円)

+7%

40～50億円
(塩野義の26/3期予想93億円)

+220%

売上推移



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

[事業概要](#)[戦略ロードマップ](#)[パイプライン](#)[日本/APAC](#)[プラットフォーム](#)[最新の業績](#)[補足資料](#)

Platform

NxWave™: パイプラインに大きな効果をもたらす独自の構造ベース創薬

NxWave™プラットフォーム



標的の同定と
バリデーション

最適な標的の同定



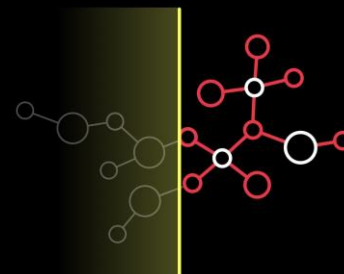
NxStaR™

適切な標的の安定化



NxHit™

最適化された
ヒット化合物の同定



NxDesign™

最良の候補化合物を
選定



トランスレーショナル
メディシン

治療仮説の検証

世界トップクラスの生産性

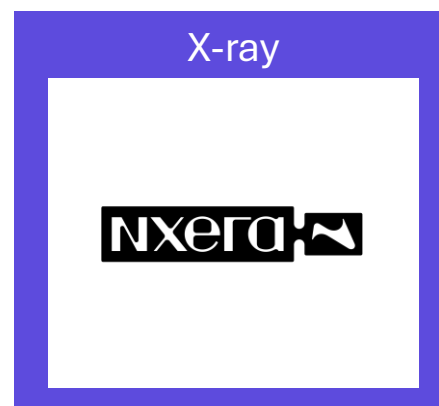
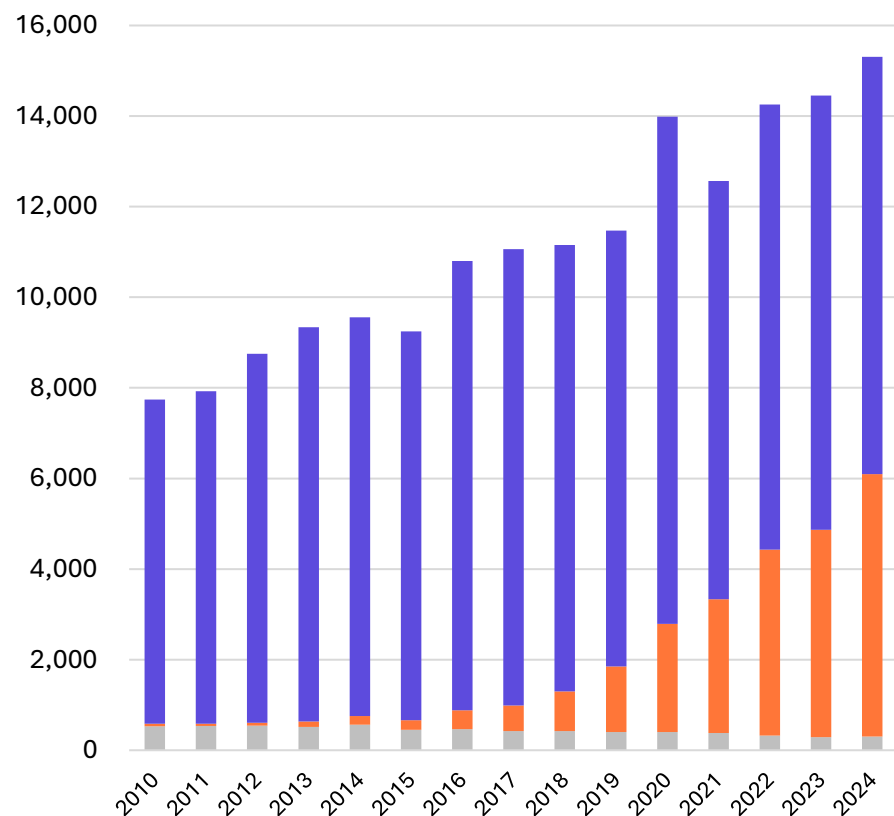
	臨床開発候補品	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
合計	29	18	5	1
アクティブ(2025年8月時点)	✓ 15	✓ 11	✓ 4	✓ 1



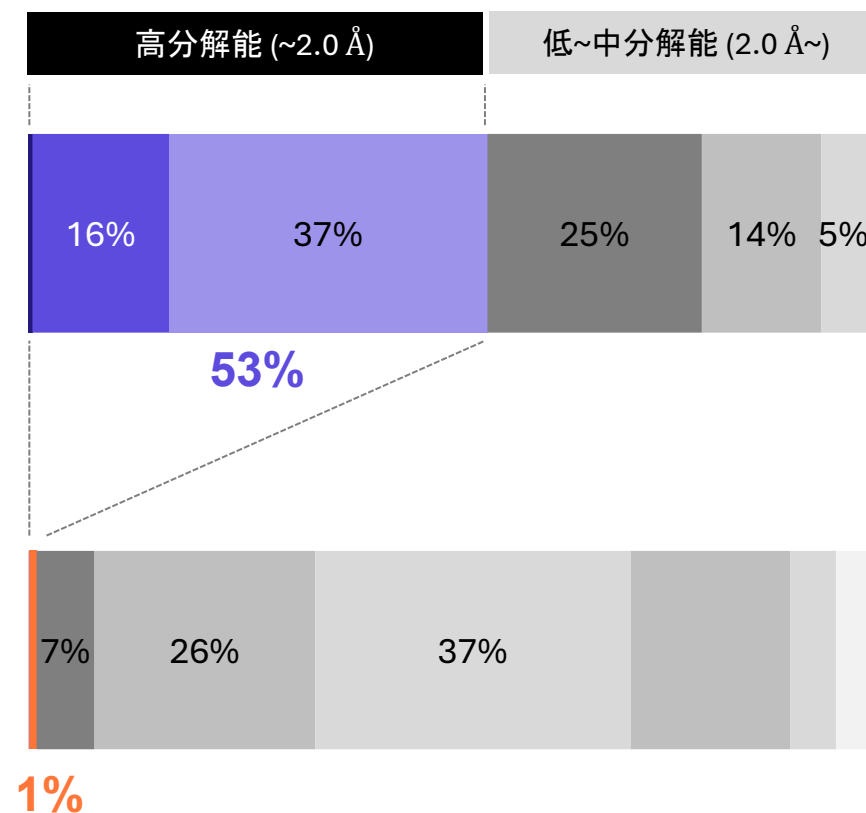
PDB登録の構造解析数と技術別分解能

足元ではCryo-EMによる構造解析数が増加、分解能ではX線結晶構造解析に大きく軍配

技術別の構造解析数



技術別の分解能



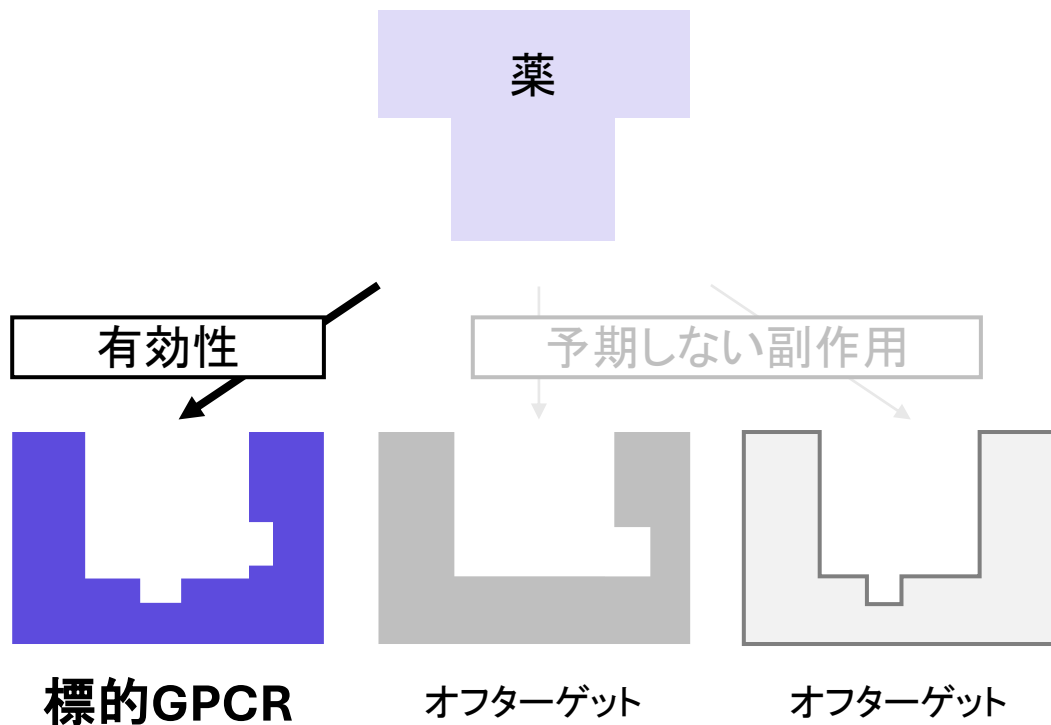


当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

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

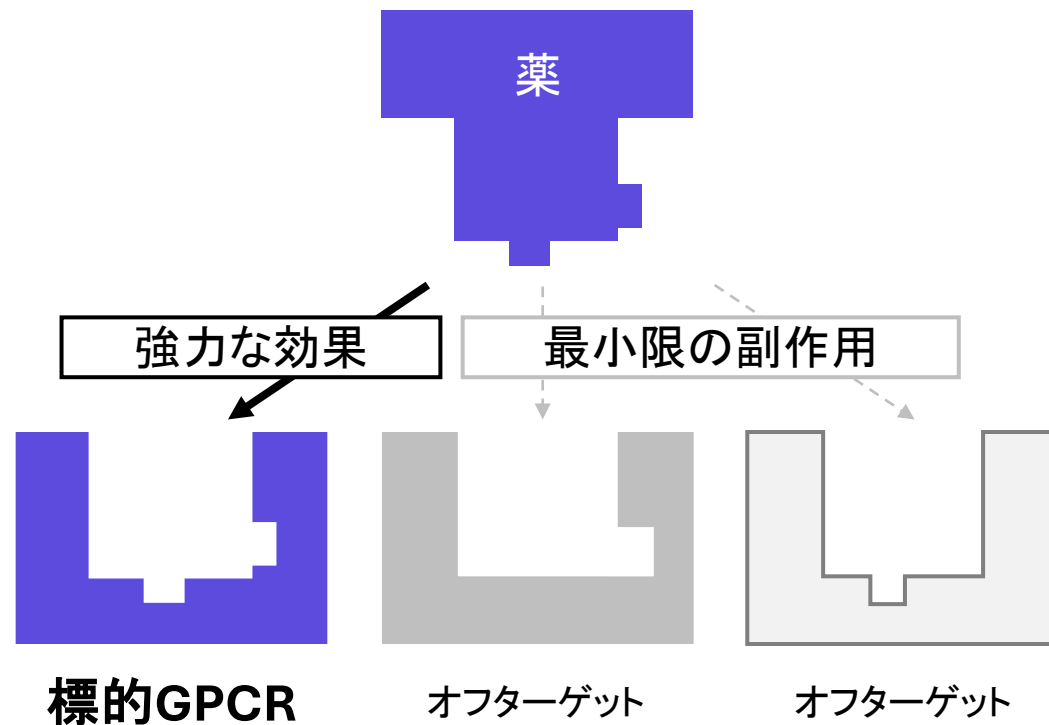
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

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

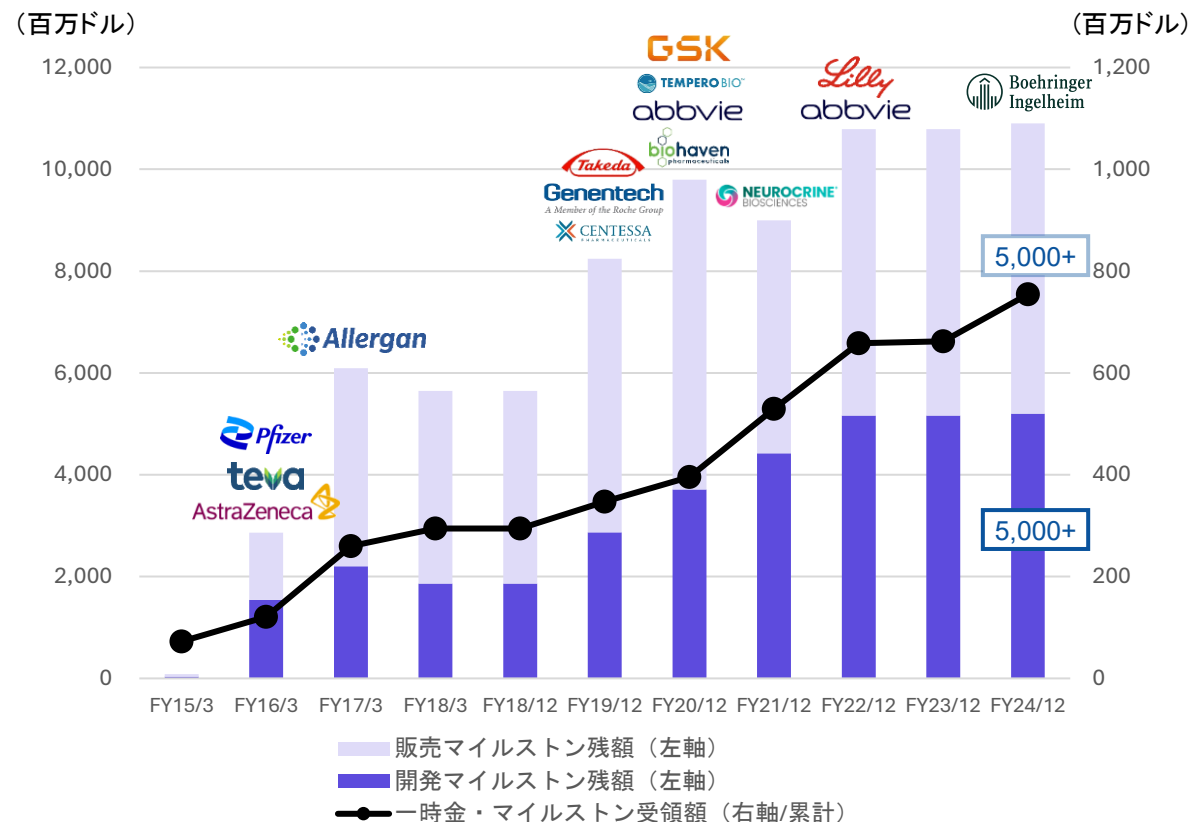




グローバルの大手製薬との豊富な取引実績があり…

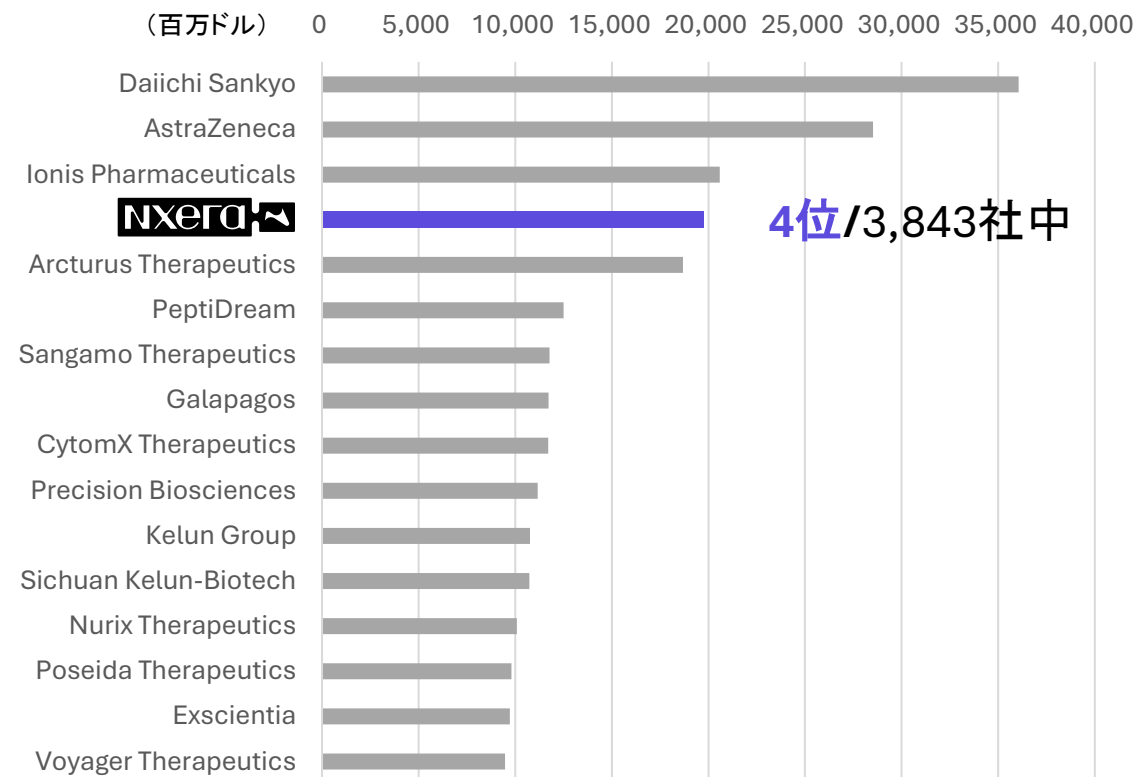
既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

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

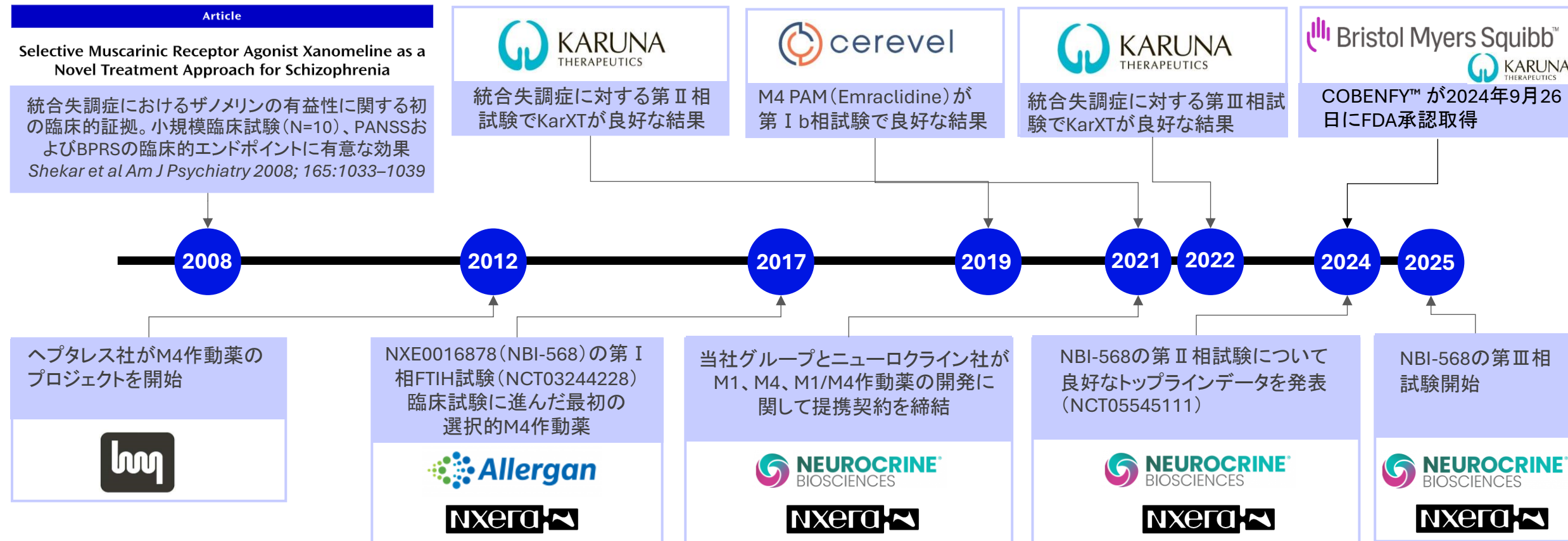
¹将来受け取る権利を有するオプション行使料、開発承認 商業化マイルストンの総額。これとは別に製品が販売された場合には、ロイヤリティとして売上高の一定割合（通常1桁中盤～2桁の段階的ロイヤリティ）を受領する権利を有する。

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。



ムスカリンプログラムの開発状況

先行薬Cobenfyを負う形でベスト・イン・クラスを狙った当社製品NBI' 568がP3試験進行中



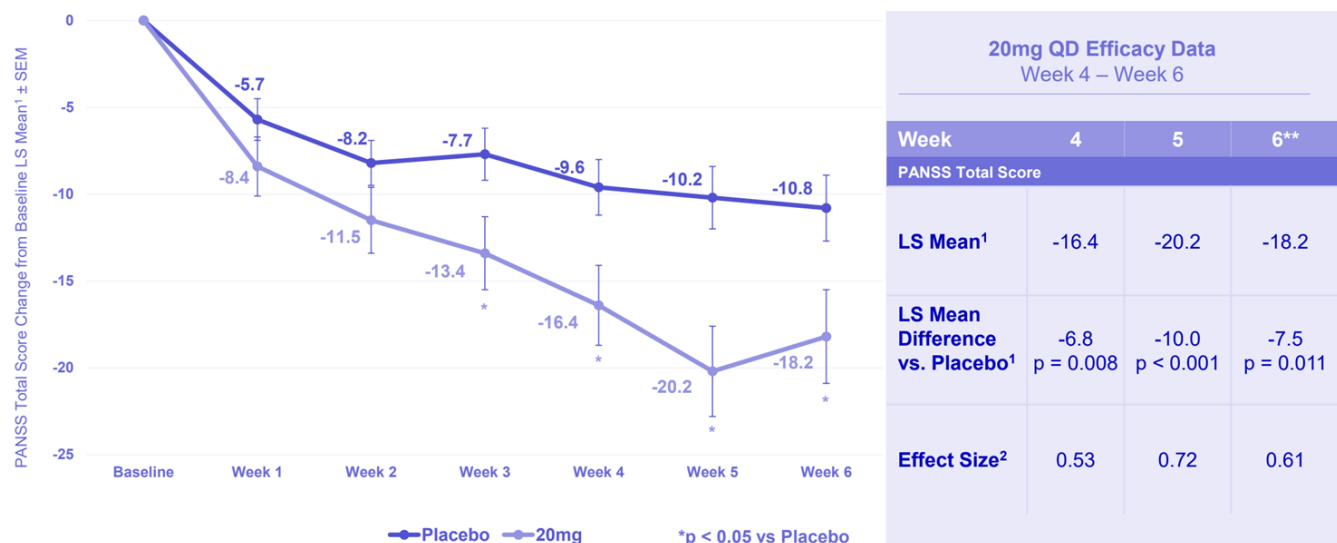
注: NBI-568は臨床試験中の薬剤であり、いかなる用途においても規制当局からは未承認



M4作動薬のフェーズ2試験トップライン結果

20mgで有効性を確認。プラセボとの比較で、PANSS、CGI-S共に統計的に有意な差

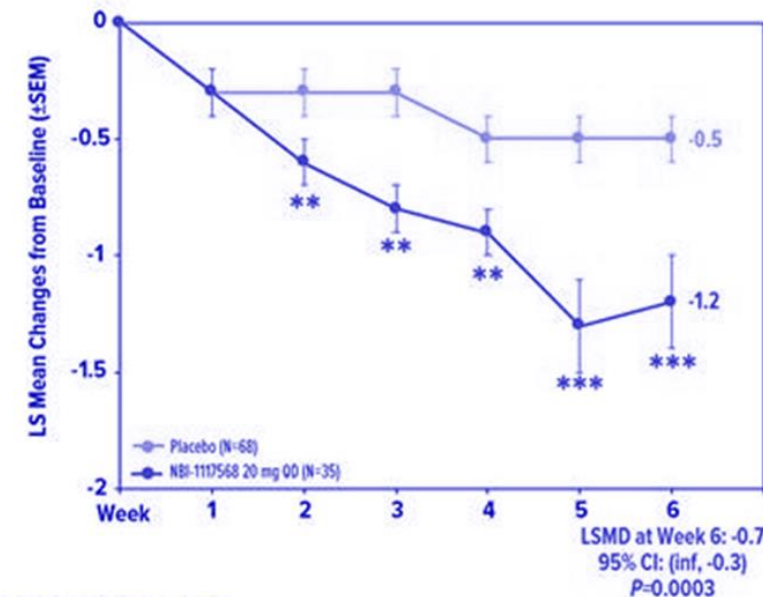
Once-Daily 20mg Dose Demonstrated Clinically Meaningful and Statistically Significant Efficacy at Week 3, 4, 5, and 6



¹ Least-squares (LS) means are from a MMRM which includes treatment group, visit, and study period as fixed effects; treatment group-by-visit interaction; baseline PANSS total score as a covariate; and subject as a random effect.
² Effect size (Cohen's D) is based on observed data.

9

B. Changes in CGI-S Score



*P<0.05 **P<0.01 ***P<0.001

LS means are from a MMRM, which includes treatment group, visit, and stage of randomization as fixed effects; treatment group-by-visit interaction; baseline score as covariate; and participant as a random effect. Cohen's d based on observed values.

“20mg投与群で、PANSSスコア、CGI-Sスコア共に一貫してプラセボとの統計的有意差が見られた、再現性のある反応が見え、データは強固だと考えている”



競合薬との施設数・試験機関の比較



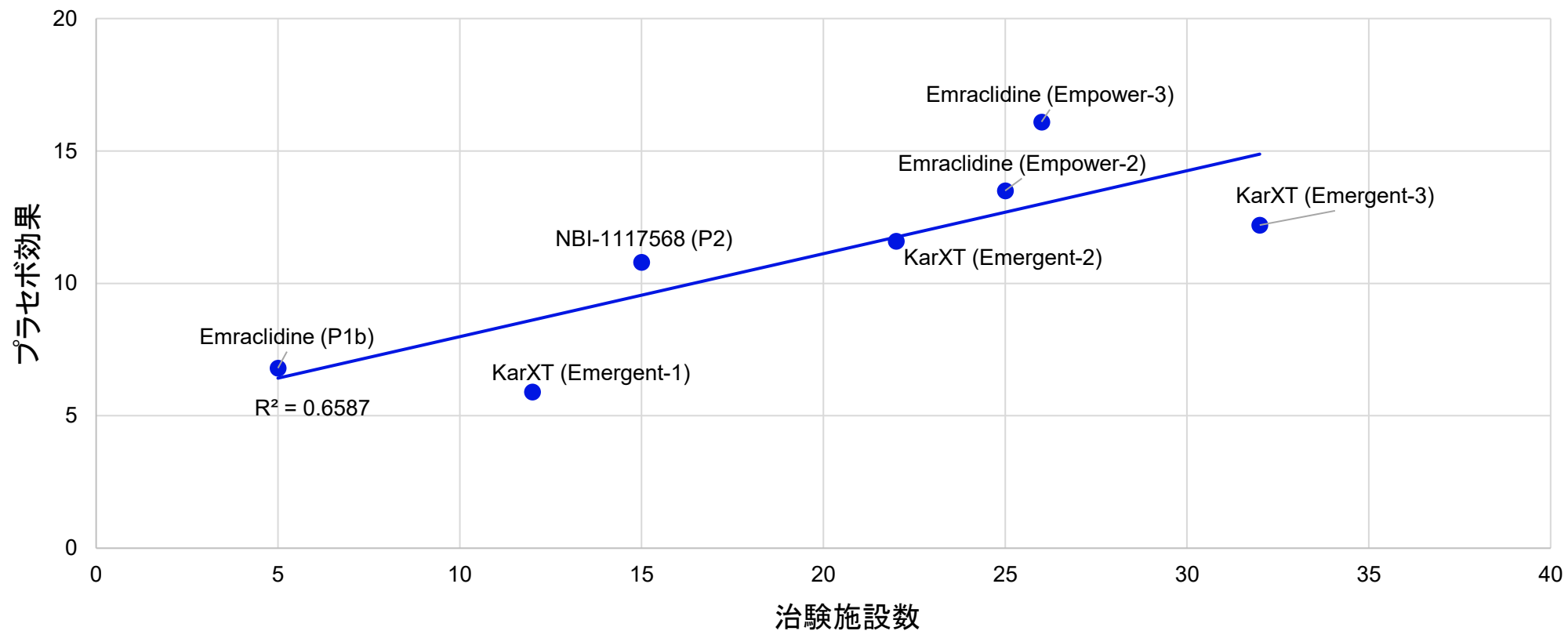
NBI-1117568のP3試験は実薬:プラセボは1:1、施設数を約20施設に絞り込み、プラセボの影響を極力排除する

	Neurocrine/Nxera	Neurocrine/Nxera	BMS/Karuna	AbbVie/Cerevel
化合物	NBI-1117568	NBI-1117568	Cobenfy/Kar-XT	CVL-231/Emraclidine
試験名 / コード	NCT05545111	NCT06963034	EMERGENT-2/3	EMPOWER-2/3
投与経路	経口(一日1回)	経口(一日1回)	経口(一日2回)	経口(一日1回)
患者数	213名	280名+	計518名	計752名
患者割付	実薬:プラセボ = 2:1	実薬:プラセボ = 1:1	実薬:プラセボ = 1:1	実薬:プラセボ = 2:1
施設数	15施設	約20施設	22施設(EMERGENT-2) 32施設(EMERGENT-3)	26施設(EMPOWER-2) 25施設(EMPOWER-3)
試験期間	1.8年	25年5月-27年10月(2.2年)	1.6年	2.2年
フェーズ	フェーズ2(成功)	フェーズ3(試験中)	フェーズ3(成功)	フェーズ2(失敗)
主要評価項目	PANSS合計スコアの変化量 (6週後)	PANSS合計スコアの変化量 (5週後)	PANSS合計スコアの変化量 (5週後)	PANSS合計スコアの変化量 (6週後)



プラセボ効果のデータ比較 (Total PANSS)

ムスカリン関連プログラムのプラセボ効果は施設数が増加すれば高まる傾向にあるか



“プラセボ効果を管理するためには施設数も重要な要素の一つと考えている。”



安全性: 副作用リスク

消化器・心血管系の副作用の発生率は、Cobenfyはプラセボよりも多かったが、NBI-568はプラセボと同等程度

NBI-568

	Placebo N=70	20mg QD N=40	40mg QD N=39	60mg QD N=34	30mg BID N=27	All Treated N=140
Somnolence	2 (2.9)	5 (12.5)	2 (5.1)	7 (20.6)	1 (3.7)	15 (10.7)
Dizziness	1 (1.4)	5 (12.5)	3 (7.7)	4 (11.8)	1 (3.7)	13 (9.3)
Headache	14 (20.0)	1 (2.5)	5 (12.8)	1 (2.9)	5 (18.5)	12 (8.6)
★Nausea	2 (2.9)	2 (5.0)	3 (7.7)	3 (8.8)	0	8 (5.7)
★Constipation	2 (2.9)	2 (5.0)	3 (7.7)	1 (2.9)	1 (3.7)	7 (5.0)

Cobenfy

Table 3.6. Pooled Treatment-Related Adverse Events in EMERGENT trials²⁰

Adverse Event, %	KarXT (n= 340)	Placebo (n= 343)
★Nausea	17.1%	3.2%
★Constipation	15.0%	5.2%
★Dyspepsia	12.1%	2.3%
★Vomiting	10.9%	0.9%
★Hypertension	5.9%	1.2%
Dry Mouth	5.0%	1.5%
Tachycardia	4.7%	2.0%

安全性			食事制限	服薬回数
消化器症状 (M2)	心血管症状 (M3)	その他		
★ プラセボ と同等	★ プラセボ と同等	傾眠 めまい	なし	1日1回
★ プラセボ比 で3-5倍 (10%以上の項 目が4つ)	★ プラセボ比 で約4倍 (5.9%で発生)	ドライマウス	あり (食前1時間又 は食後2時間)	1日2回 (トロスピウム の併用)

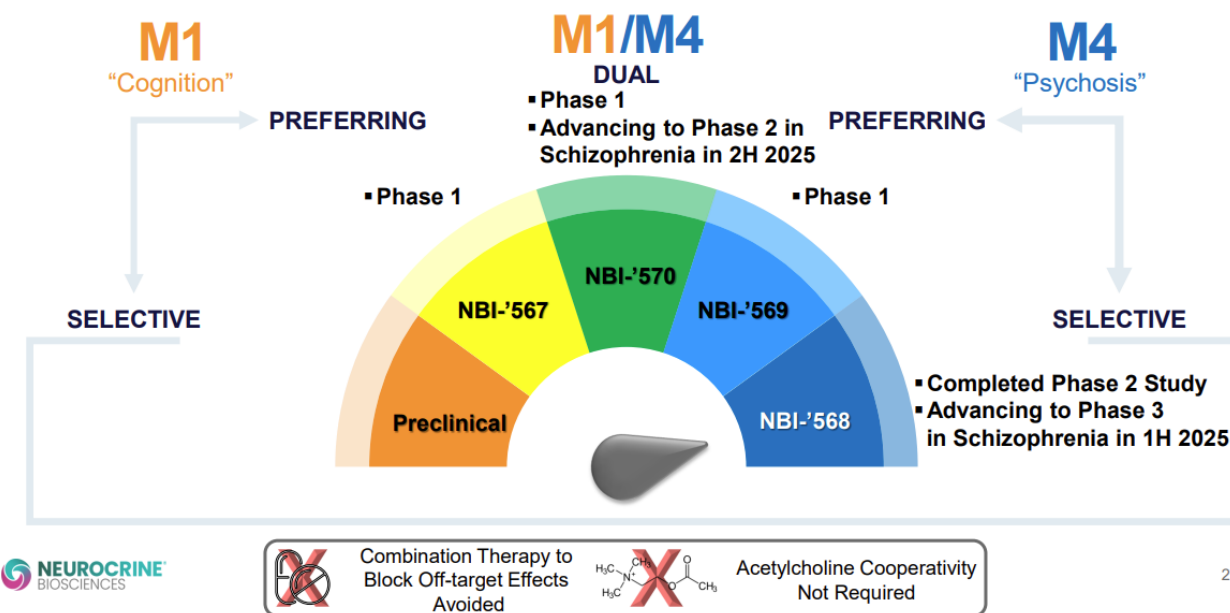


ニューロクライン社は世界で最も広範なムスカリンオルソステリック 作動薬ポートフォリオを開発中 – NxWave™を用いて当社が創出



Muscarinic Platform Includes Multiple Clinical Programs

From M1 to M4 Selective Orthosteric Agonists



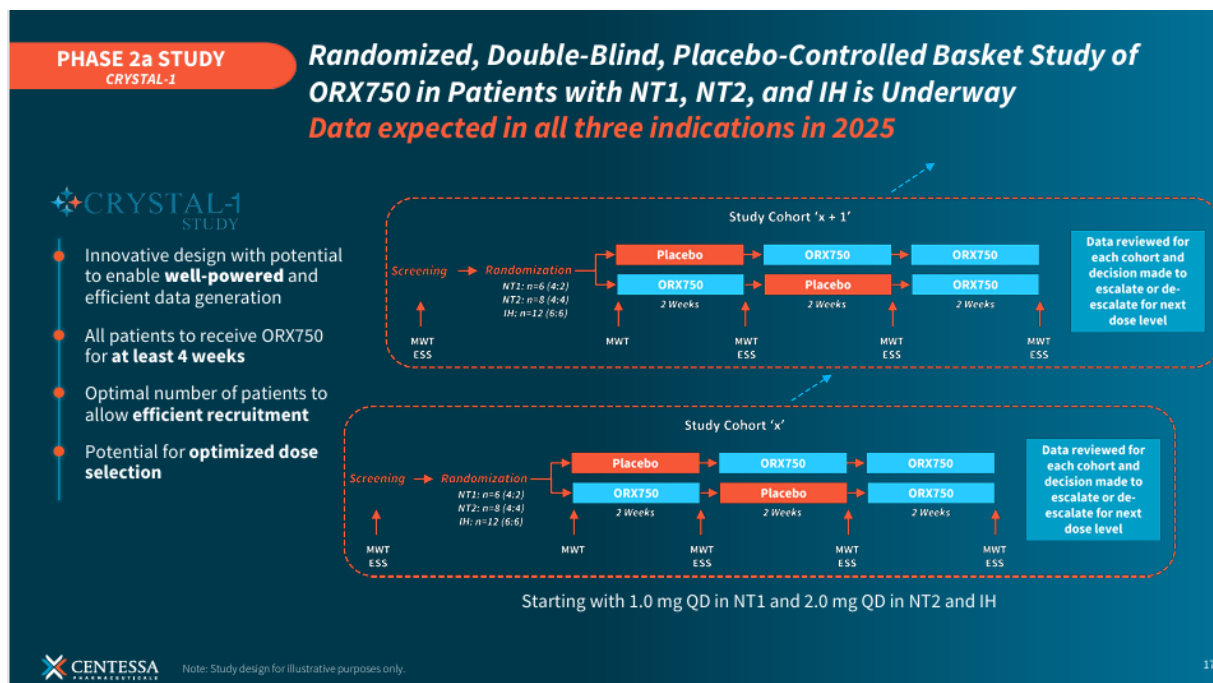
製品名/ 開発コード	ターゲット	適応症	Phase1	Phase2	Phase3
NBI'568	M4 作動薬	統合失調症			2025年~
NBI'568	M4 作動薬	双極性障害		2025年2H~	
NBI'570	M1/4 作動薬	統合失調症		2025年2H~	
NBI'569	M4 作動薬	-			P1結果を 25年に報告予定
NBI'567	M1 作動薬	-			

M1とM4をカバーし、複数のアプローチで認知症状および精神症状を治療していく



オレキシン受容体2(OX2R)作動薬 提携先のCentessa社が開発中

ORX750、ORX142、ORX489はNT1、NT2、IH及び神経疾患対象に開発、PoC試験結果が2025年に報告される可能性



Positioned to be Potential Best-in-Class / First-in-Class in Emerging Category of OX2R Agonist Therapeutics

- ORX750** for the treatment of **NT1, NT2 and IH**
- ORX142** for the treatment of **neurological and neurodegenerative disorders**
- ORX489** for the treatment of **neuropsychiatric disorders**
- Earlier stage OX2R agonists and therapeutics for additional potential indications

Molecule	hOX2R EC50 (nM)	Selectivity vs. hOX1R
Native ligand orexin-A (OXA) ¹	0.035	n/a
ORX750¹	0.110	9,800x
ORX142²	0.069	13,000x
ORX489³	0.035	8,800x



Fluorescent imaging plate reader (FLIPR) assay with Chinese hamster ovary (CHO) cells stably expressing human recombinant OX1R or OX2R.
1. Black et al., World Sleep 2023 Abstract. 2. Black et al., European Sleep Research Society 2024 Abstract. 3. Company data / presentations.

8

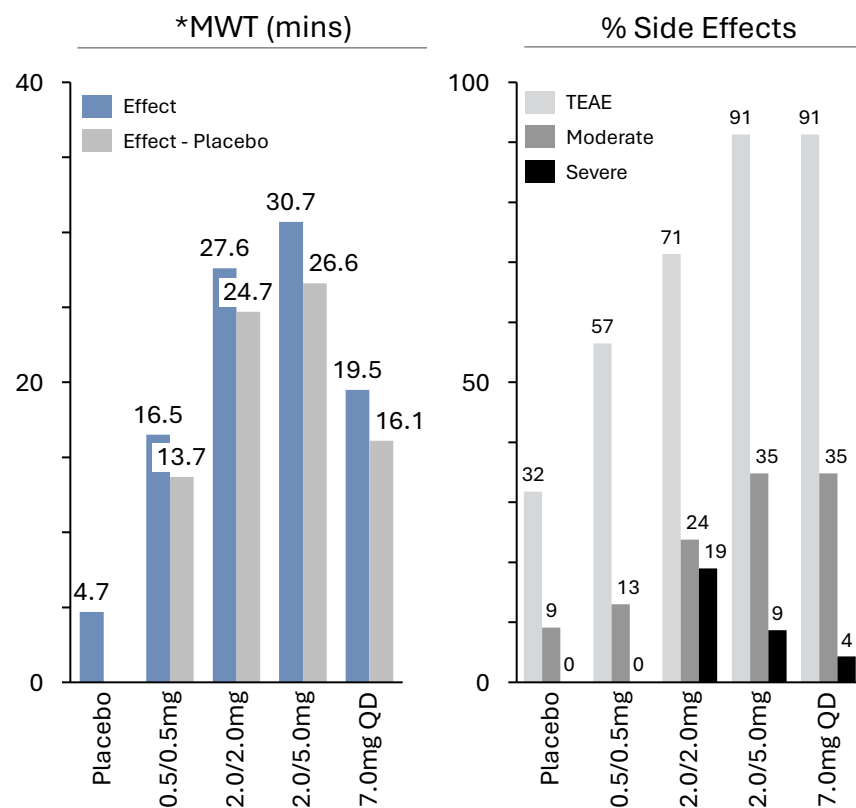
NxWave™プラットフォームにより複数アセットを創出：CNS領域の適応における商業的ポテンシャルが大きい



OX2作動薬の競合データ整理

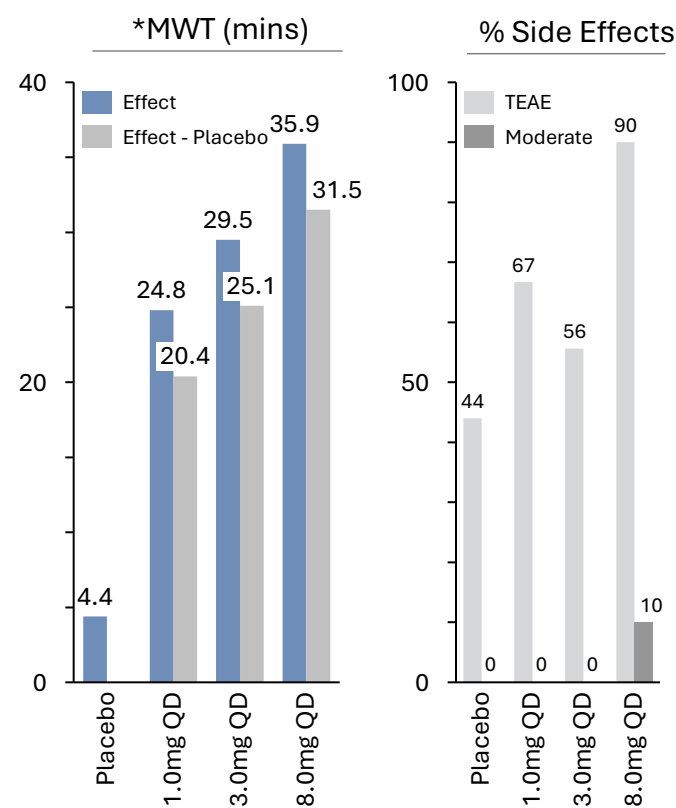
ORX750は安全性・有効性ともに良好な結果をP1試験結果で報告

TAK-861



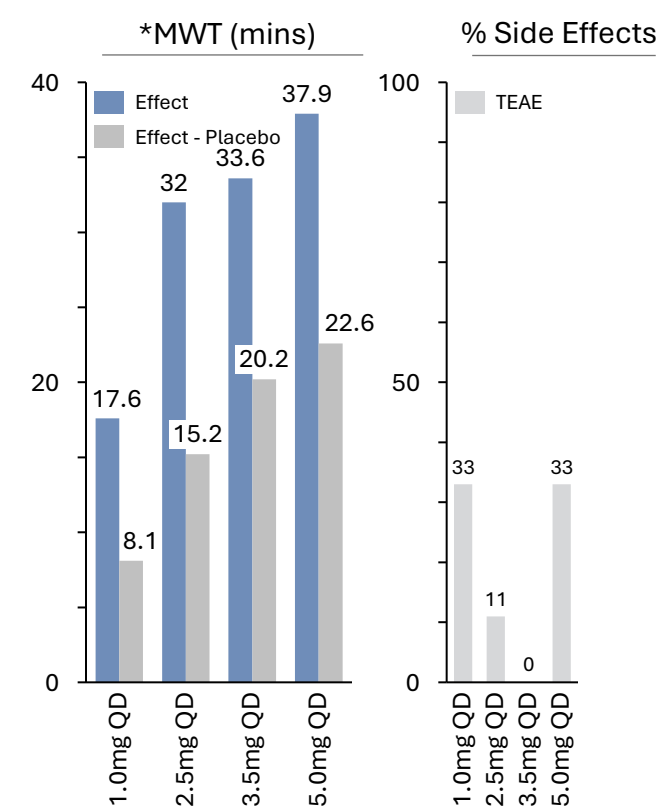
- Ph2b NT1 patients
- n=112 (Week8)

ALKS2680



- Ph1b NT1 patients
- n=34

ORX750



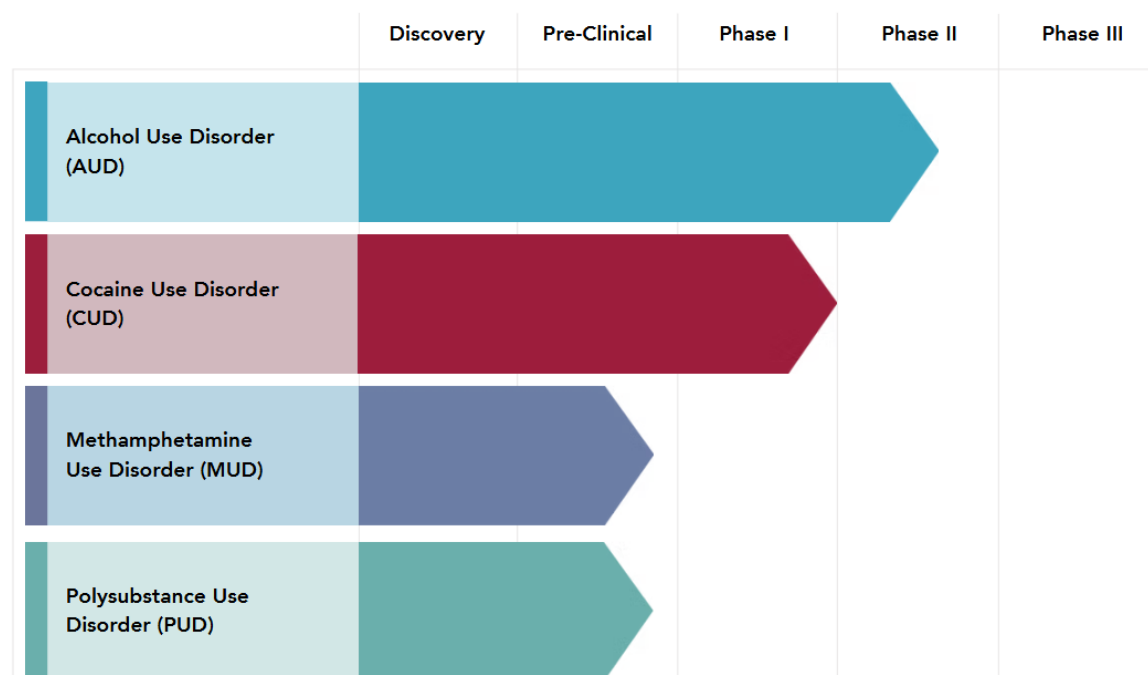
- Ph1b healthy volunteers
- n=10



mGlu5 NAM TMP-301 Tempero Bio社が開発中

アルコール依存症とコカイン依存症の患者を対象とした2本の臨床試験が進行中

開発パイプライン



ハイライト

- Tempero BioはシリーズBで70百万ドルの資金調達を実施(2025年3月24日)、本資金調達でTMP-301のフェーズ2試験以降の開発資金を確保
- アルコール依存症に対するフェーズ2試験、コカイン依存症に対するフェーズ1試験結果が2025年後半以降に報告予定.
- コカイン依存症に対するフェーズ2試験を26年以降に開始予定

患者対象の2つの臨床結果が2025年後半以降に発表される可能性



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*	NXE 
GLP-1 ag	21	
GIP ag/ant	1	
Amylin ag	1	
Apelin ag	0	
Other	1	(非開示)

ハイライト

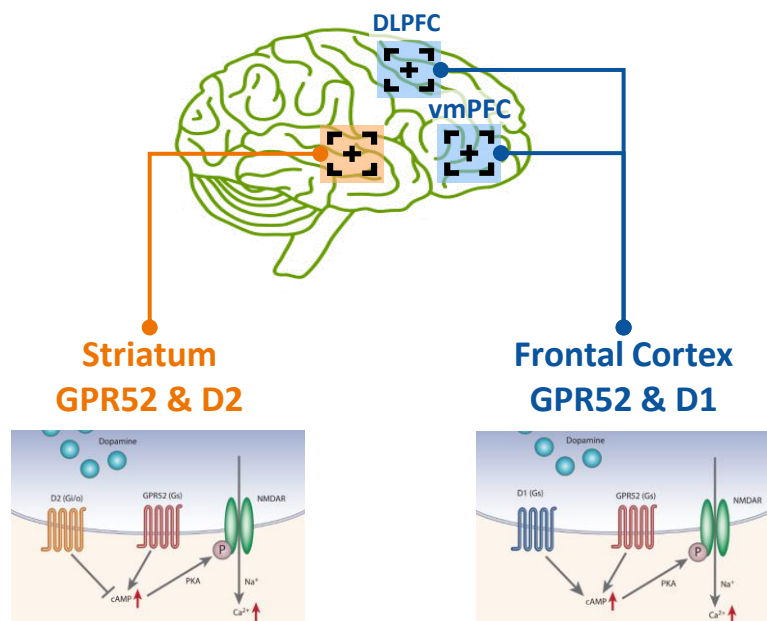
- 当社は経口医薬品に注力
 - ✓ ポリファーマコロジーの実現
 - ✓ 患者への利便性向上
 - ✓ 新興市場・プライマリーケアへのアクセス向上
 - ✓ コールドチェーン不要
 - ✓ 原価低減・スケールアップが容易
 - ✓ 製造における保険償還におけるメリット
- 当社はGLP-1、GIP、Amylin、Apelinを標的とした複数のプログラムを推進。提携交渉も進行中
- Eli Lillyとの提携で開発マイルストーン達成(金額、ターゲット詳細は非開示)。2022年に総額マイルストーン最大694百万米ドルの契約を締結

GPR52 受容体作動薬- 統合失調症

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

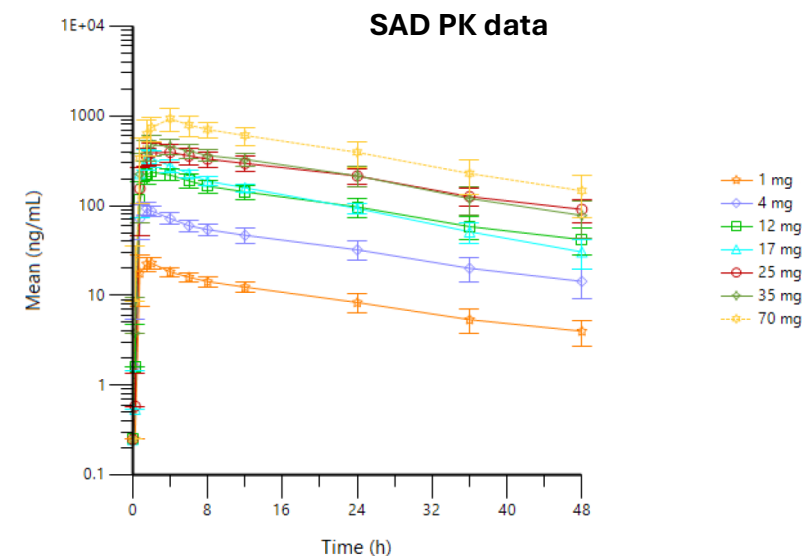
疾患メカニズムとの関連

- 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



進捗と今後の見込み

- P1a試験は完了**
 - 薬力学的測定を含む試験
 - 薬物動態試験データは前臨床データからの予測と整合
 - 1日1回投与の想定とも整合
- P1b試験が開始。2025年下半期に完了予定**
 - 作用機序の検証試験
 - 脳内のGPR52の活性化も検証



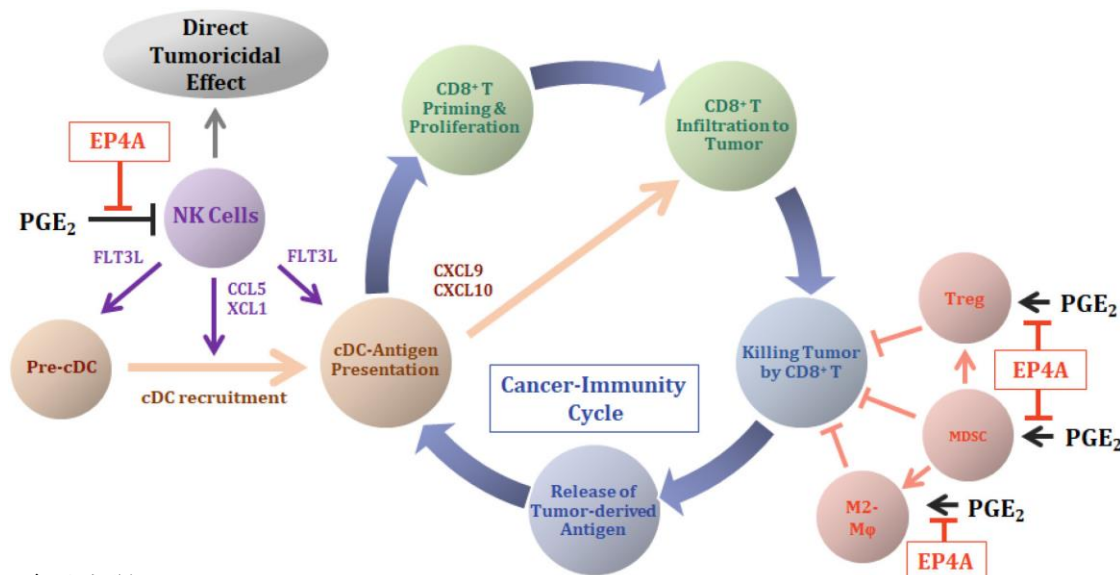


EP4受容体拮抗薬 – 進行性固形がん

単剤もしくは免疫チェックポイント阻害剤(CPI)との併用で開発中

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の効果を高めることが期待される
- 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



進捗と今後の見込み

- **P1試験の被験者登録が完了**
 - 単剤及びPD-L1との併用療法の用量漸増試験: 被験者登録が完了、P2試験での推奨用量を確認
 - 被験者に有益性が認められる限り、試験は継続される
- **現在までのP1試験データは良好**
 - 有害事象は主に軽度(グレード1-2)であり、投与を中断することなく回復
 - PKプロファイルは予測通りで、全ての用量レベルで概ね用量比例制を確認
 - 試験した全用量レベルで標的結合を確認、T細胞浸潤評価を含む追加の薬力学的解析が進行中
- **P1試験結果はESMOで発表予定(2025年10月)**
- **英国でP2試験の被験者募集を実施中。4つの特定の腫瘍タイプを対象とし、PD-L1との併用療法に重点**



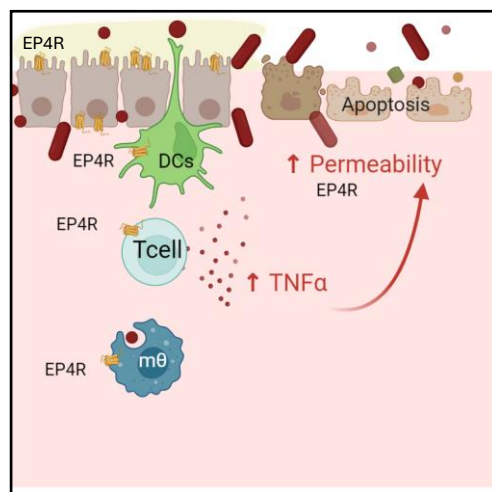
EP4受容体作動薬 - 炎症性腸疾患 (IBD)

IBD患者の消化管内の粘膜治癒を促進するファーストインクラスの開発品

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



Created with BioRender.com

開発進捗

FTIH SAD/MAD試験は完了

- 現在までに有害事象は認められていない
- 潰瘍性大腸炎 (UC) 患者コホート試験が進行中で、インドメタシン負荷モデルを2025年9月に開始予定
- プロジェクト戦略の策定に向け、Ph1試験から得られたバイオマーカーデータを解析中
- 新たな臨床データ及び標的結合データに関する意見を得るため、臨床アドバイザリーボードからの評価・助言を収集中

EP4 Ag Study Link:
<https://www.isrctn.com/ISRCTN70080074?q=nxera&filters=&sort=&offset=1&totalResults=2&page=1&pageSize=10>

最新の連結業績

06



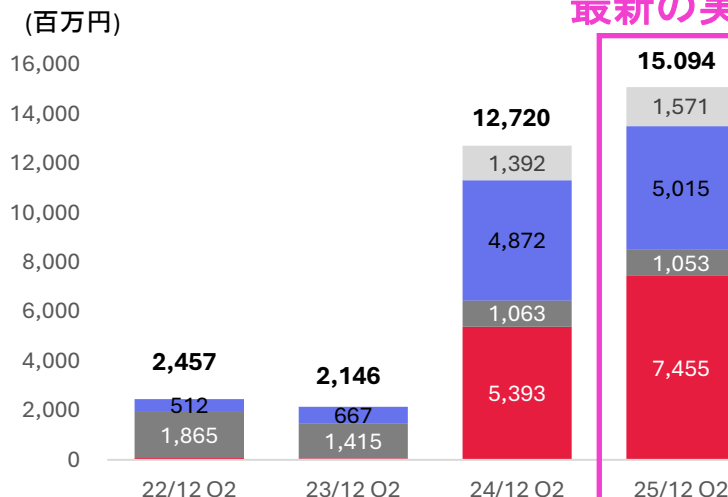
主要決算数値

医薬品販売事業が成長し、コア営業利益の黒字化を達成

最新の実績

主な変動要因

売上高

契約一時金¹

■ ヴィアトリス社へのCenerimodの日本・APAC権利の譲渡10百万米ドル(2月)

マイルストン²

■ ニューロクライン社との開発品M4作動薬NBI'568のP3試験開始15百万米ドル(6月)

■ センテッサ社との開発品ORX142のP1試験開始4.8百万米ドル(6月)

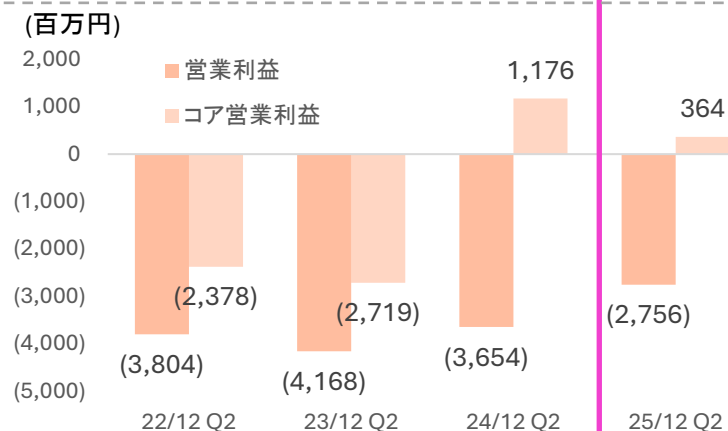
ロイヤリティ他

■ 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横ばい

医薬品販売

■ ピヴラッツ®の販売額(5,805百万円)が増加
■ クービビック®の製剤供給・ロイヤルティの計上開始

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

売上原価

■ クービビック®の売上原価が追加
■ ピヴラッツ®の在庫分に対する売上原価調整額が25/12期1Qからゼロ

販売費及び一般管理費

■ NPJ/NPK関連の管理費が減少
■ 無形資産の償却費の増加(ピヴラッツ®、クービビック®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



決算のブレイクダウン

対社内計画に対して順調な進捗、コマーシャル事業の収益性が大きく改善

(百万円)	 プラットフォーム*1	 コマーシャル*2	=	連結損益(コア)	 ノンコア費用	=	連結損益(IFRS)		
	(対前年同期比)	(対前年同期比)		(対前年同期比)	(対前年同期比)		(対前年同期比)		
売上収益	6,132	-16%	8,962	+66%	15,094	+19%	合計：3,120	15,094	+19%
売上原価	1,065	-2%	2,380	+223%	3,445	+89%	A 償却費 (894) B その他 (1,531)	3,473	-1%
販管費	2,600	+33%	2,569	-28%	5,169	-6%		7,566	-6%
研究開発費	6,087	+47%	692	-1%	6,779	+40%	B その他 (695)	7,474	+36%
その他収益	668	+42	(5)	-7	663	+36		663	+36
営業損益	(2,952)	-3,723	3,316	+2,911	コア営業損益 364	-812		営業損益 (2,756)	+898

A 主にピヴラッツとクービビックの無形資産の償却

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

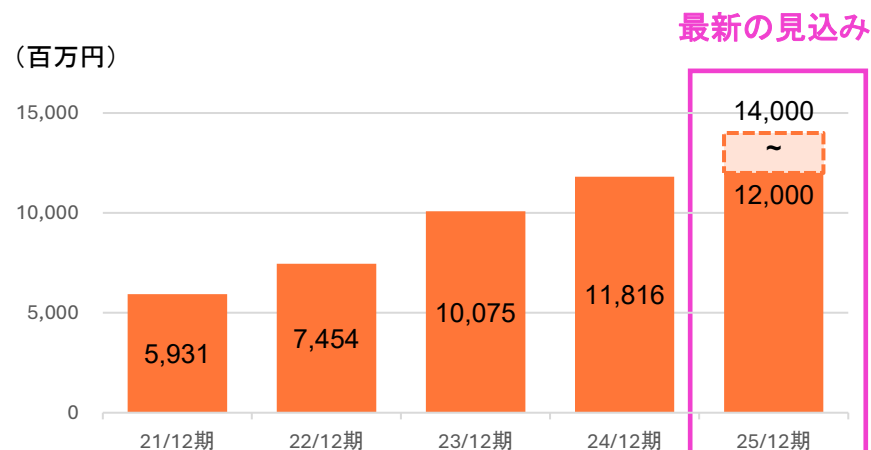
*1 = ネクセラファーマ株式会社(旧そーせいグループ株式会社) + Nxera Pharma UK Ltd (旧Heptares Therapeutics Ltd.)、但し、ネクセラファーマ株式会社のスイス支社を除く

*2 = ネクセラファーマジャパン株式会社(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) + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社



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

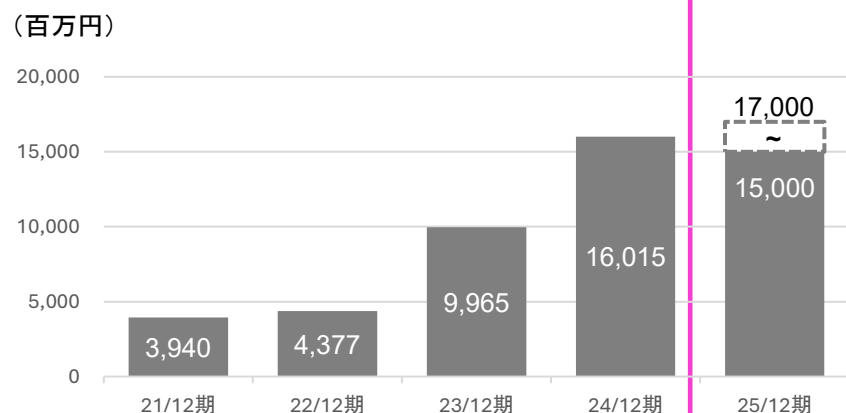


研究開発費(IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円(据え置き)

主なポイント

- 下期の研究開発費圧縮により計画に変更なし
- 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

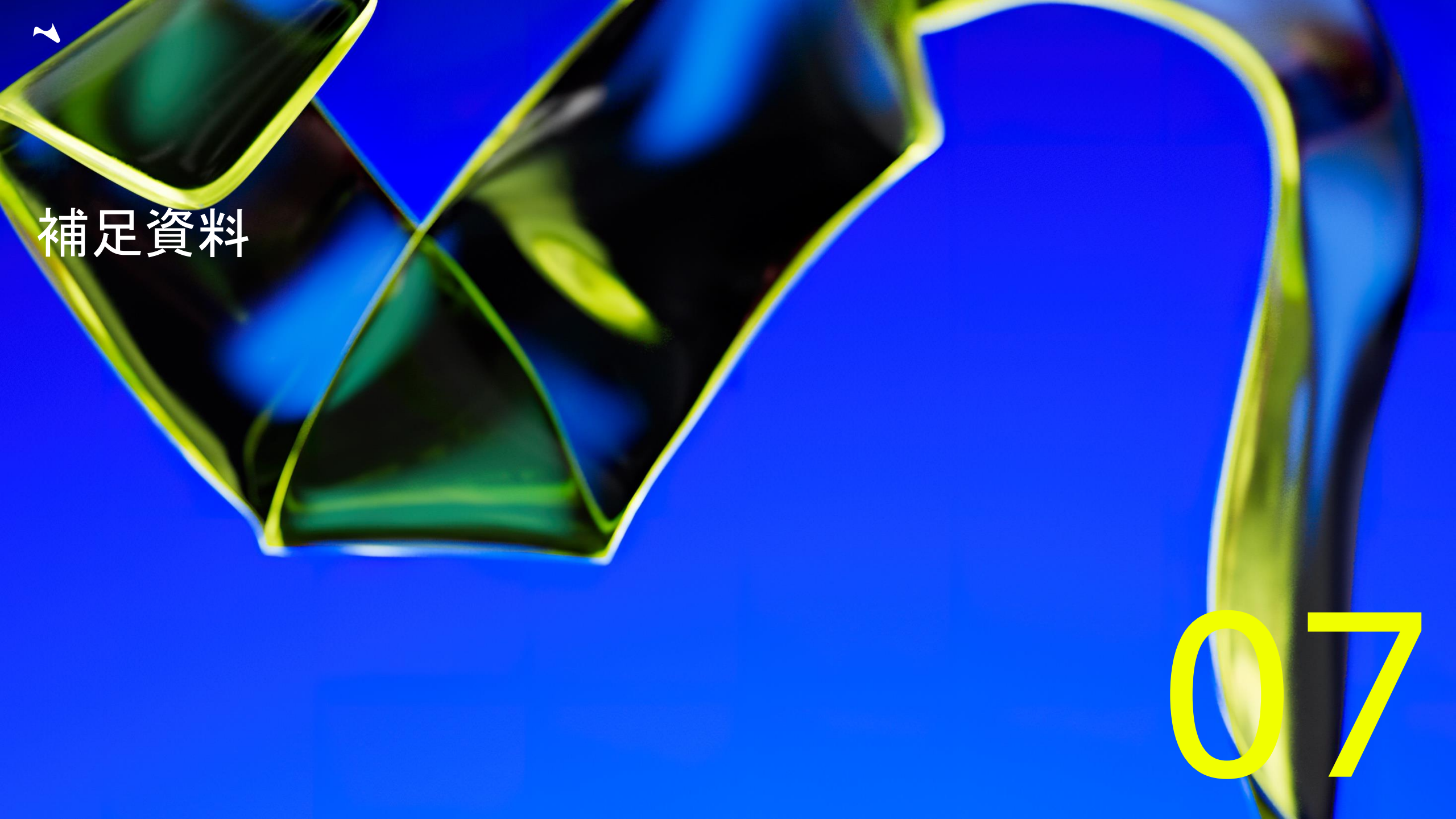


販売費及び一般管理費(IFRSベース)

15,000百万円～17,000百万円(据え置き)

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

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							
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							
(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	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	sanofi							
(Not disclosed)	AI-Augmented Drug Discovery	低分子	神経疾患/免疫疾患	PHARMENABLE							
(Not disclosed)	Multi targe	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患	precisionlife							
共同出資											
TMP-301	mGlu5 NAM	低分子	アルコール依存症	TEMPERO BIO							
TMP-301	mGlu5 NAM	低分子	コカイン依存症	TEMPERO BIO							
ORX750	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー1/2型、IH	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	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											
ピヴラツツ®	ETA 拮抗薬	低分子	脳血管攣縮	NXera							
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 ²	EP4 拮抗薬	低分子	がん免疫	NXera							
NXE0033744	EP4 作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXera							
NXE0027477	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患	NXera							
(非開示)	ムスカリンM1作動薬(日本)	低分子	神経疾患	NXera							
(非開示)	SARS CoV-2 Mpro 阻害薬	低分子	コロナウイルス感染症	NXera							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	神経疾患	NXera							
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	NXera							
複数ターゲット	非開示	低分子/生物製剤	免疫疾患	NXera							
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	NXera							
NXE'097	GLP-1 拮抗薬	ペプチド	低血糖症	NXera							
NXE'023	デュアルGLP-2/GLP-1作動薬	ペプチド	腸管障害/ NASH	NXera							
(非開示)	Apelin 作動薬	ペプチド	肺動脈性肺高血圧症	NXera							
NXE'641	デュアルオレキシン拮抗薬	低分子	不眠症/睡眠障害	NXera							
(非開示)	PAR-2 抗体	モノクローナル抗体	アトピー性皮膚炎	NXera							

1:パートナーがオプション権を保有

2:*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。

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	2025-07-11	NCT05545111	-
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-05-08	2027-10	2025-09-23	NCT06963034	NCT07114874
導出	NBI-1117568	M4 作動薬	統合失調症	Ph3	284	Yes	2025-08	2027-11	2025-09-23	NCT07105098	NCT07114874
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	2025-03-14	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	40	Yes	2022-11-07	2026-01-14	2025-09-29	NCT05549323	NCT06327880 NCT04388878 NCT07009353
導出	PF-07258669	MC4 拮抗薬	低栄養	Ph1	26	No	2024-12-11	2025-02-20	2025-08-03	NCT06706869	NCT04628793 NCT05113940 NCT07086664
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	アルコール依存症	Ph2	110	Yes	2024-11-14	2025-11-15	2025-07-10	NCT06648655	-
導出	TMP-301	mGlu5 NAM	コカイン依存症	Ph1	18	Yes	2025-01-04	2025-05-05	2025-05-18	NCT06648668	-
導出	ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	96	Yes	2024-12-23	2025-12	2025-09-10	NCT06752668	NCT07096674
導出	ORX142	OX2 作動薬	神経疾患、神経変性疾患	Ph1	208	No	2025-06-30	2025-12-31	2025-07-24	NCT07082829	-
導出	Cenerimod	SIP1 modulator	全身性エリテマトーデス（SLE）	Ph3 Ph3	420 420	Yes Yes	2022-12-13 2023-06-26	2026-10-31 2026-10-31	2025-09-22 2025-09-22	NCT05648500 NCT05672576	NCT06475742
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-06-07	2025-11-15	2024-11-05	ISRCTN44913564	ISRCTN17231793
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	150	Yes	2023-07-13	2027-06	2025-06-08	NCT05944237	-
自社	NXE0033744	EP4 作動薬	炎症性腸疾患	Ph1	最大220	-	2023-11-24	2026-06-30	2024-05-02	ISRCTN70080074	-

* 主要評価項目完了日（見込）



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



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

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

株式保有 (%)

	2024年
TemperoBio, Inc	8.863
Centessa	0.70
Biohaven	0.03



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



Office 26.01
Flexoffice Messteurm
26th Floor
Messeplatz 10
CH-4058 Basel

スイス バーゼル



Thank you