



コーポレートプレゼンテーション

2026年1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



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

創薬プラットフォーム



CEO Research Finance Chief of Staff Legal

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 StaR™ および NxWave™ 構造ベース創薬プラットフォーム
- ・AIでさらに進化

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
- ・サプライチェーンと品質管理

約200名の従業員



コマーシャル



Finance Operation Compliance

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

約200名の従業員



私たちは、世界の医療課題の解決に取り組んでいます

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

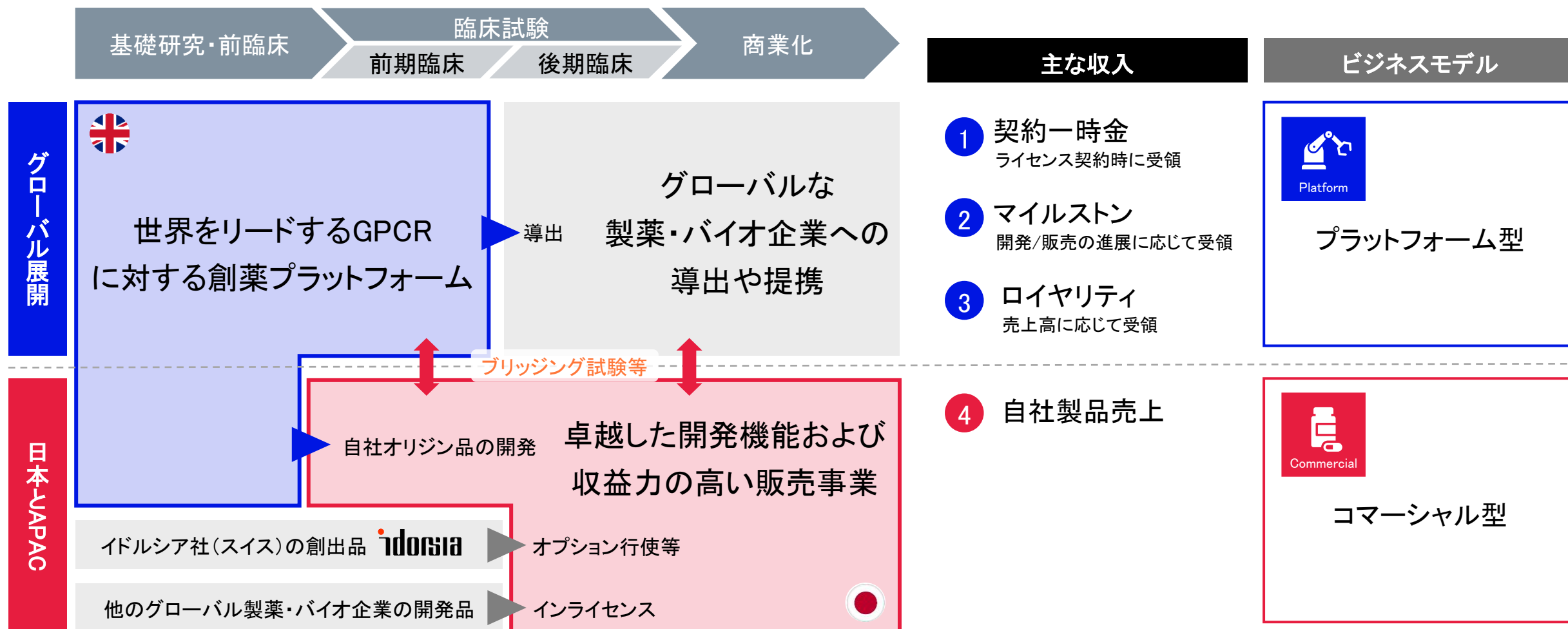
日本から
日本そして世界へ

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



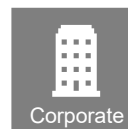
03

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



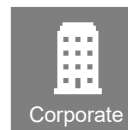
04

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 P3 M4 作動薬 統合失調症 P2 M4 作動薬 双極性障害 P2 M1/M4 作動薬 統合失調症	 CENTESSA 前臨床 Ox2 作動薬 精神疾患に関連する 睡眠障害  NEUROCRINE P1 M1/M4 作動薬 P1 M1 作動薬 ADに伴う精神症状、AD/LBD**  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 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	 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

出所: EvaluatePharma、News Research、当社分析

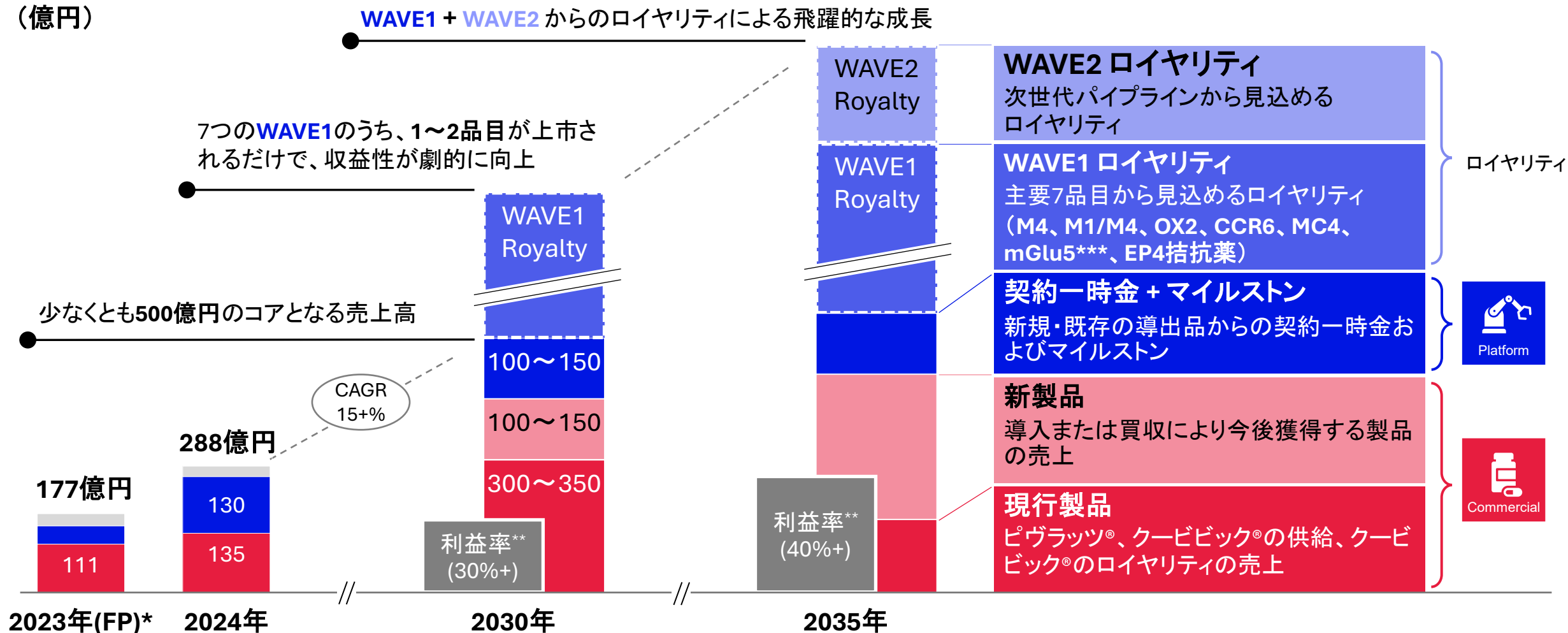
*2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です

**AD:アルツハイマー病、LBD:レビー小体型認知症



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)



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

***2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です



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

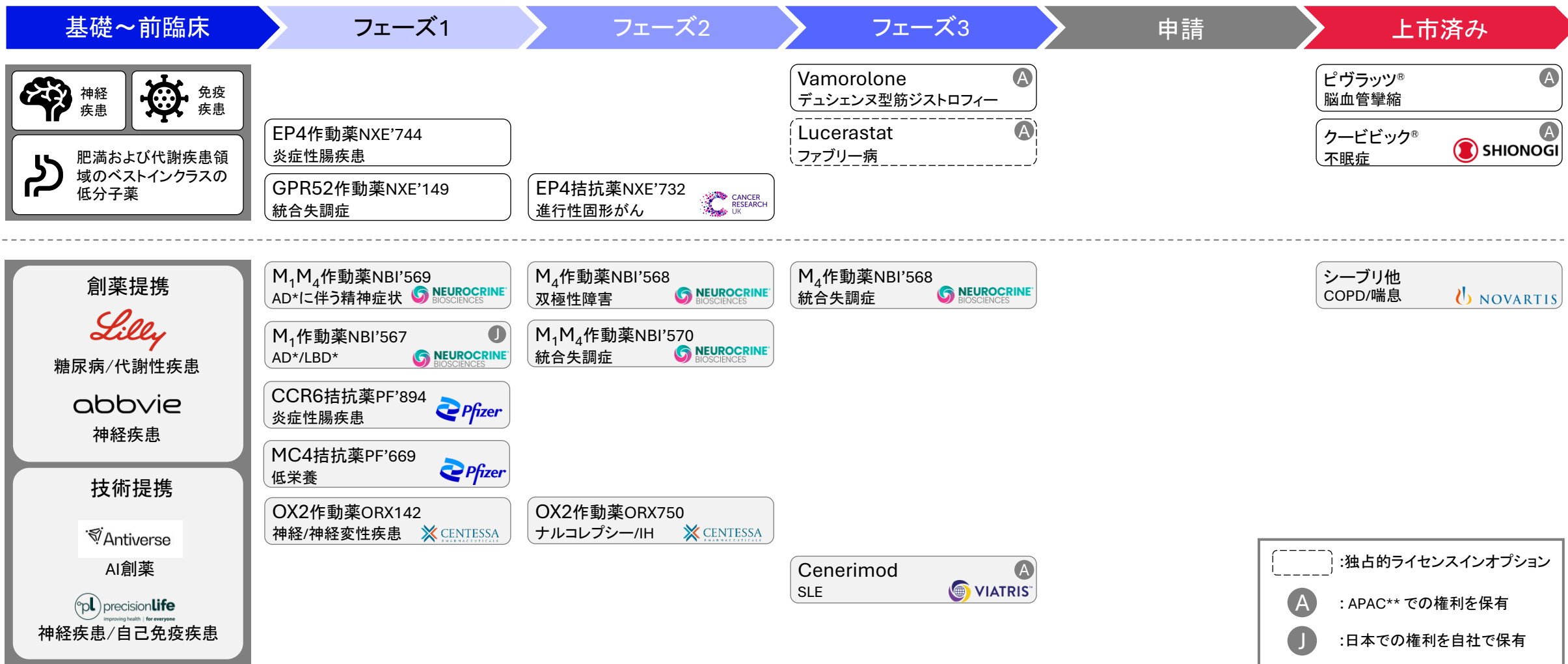
最新の業績

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



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

* AD:アルツハイマー病, LBD:レビー小体型認知症
 **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相臨床試験の資金提供、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。
 **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

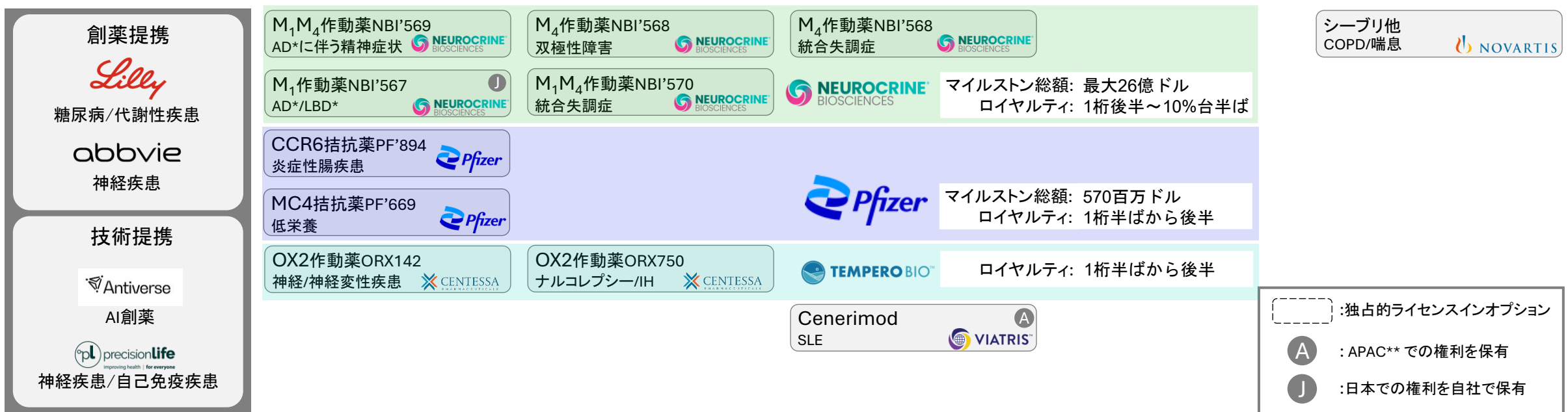
補足資料

主なパイプライン(今後の見通し含む)

自社開発



提携



* AD:アルツハイマー病, LBD:レビー小体型認知症

**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相臨床試験の資金提供、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。

**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

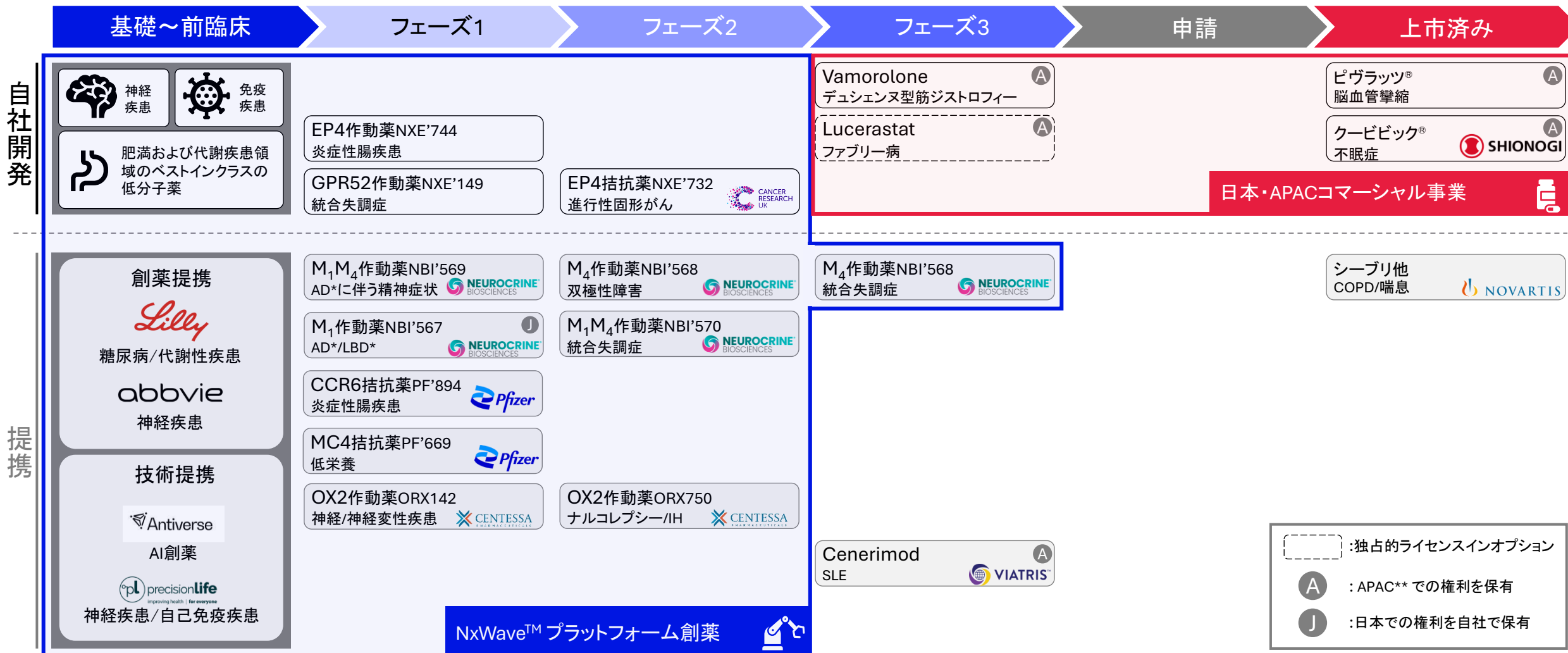
日本/APAC

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)



: 独占的ライセンスインオプション


: APAC** での権利を保有

: 日本での権利を自社で保有

* AD:アルツハイマー病, LBD:レビー小体型認知症
 **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相臨床試験の資金提供、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。
 **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



2026年に見込まれるイベント*

開発プログラム	提携先	時期	イベント
ORX750 (OX2作動薬)	 CENTESSA PHARMACEUTICALS	2026年Q1	フェーズ2a試験データ取得 (NT1/NT2/IH)
ORX750 (OX2作動薬)	 CENTESSA PHARMACEUTICALS	2026年Q1	承認取得プログラム開始 (NT1/NT2/IH)
ORX142 (OX2作動薬)	 CENTESSA PHARMACEUTICALS	2026年Q1	フェーズ2試験開始
ORX489 (OX2作動薬)	 CENTESSA PHARMACEUTICALS	2026年Q1	フェーズ1試験開始
NBI'570 (M1/M4作動薬)	 NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年Q1	フェーズ2試験開始
複数の創薬コラボレーション	abbvie 	2026年上期	創薬段階における開発の進捗
Cenerimod	 VIATRIS™	2026年Q4	フェーズ3データ取得
ムスカリン作動薬	 NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年下期	臨床開発における進捗
PF'894 (CCR6拮抗薬)	 Pfizer	2026年	フェーズ1データ取得
PF'669 (MC4拮抗薬)	 Pfizer	2026年	フェーズ1データ取得
NBI'567 (M1作動薬) / NBI'569 (M4作動薬) / NBI'570 (M1/M4作動薬)	 NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年	フェーズ1 データ発表
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

2030年のビジョン実現に向けた大きな一年



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



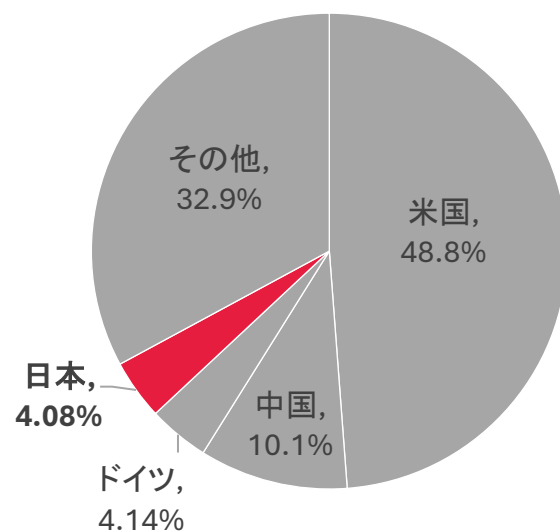
日本はAPAC市場展開の拠点となる

日本は取引量が多く、魅力的で確立された市場

日本は世界で3番目に 大きい市場規模(中国を除く)

市場規模

(2024)



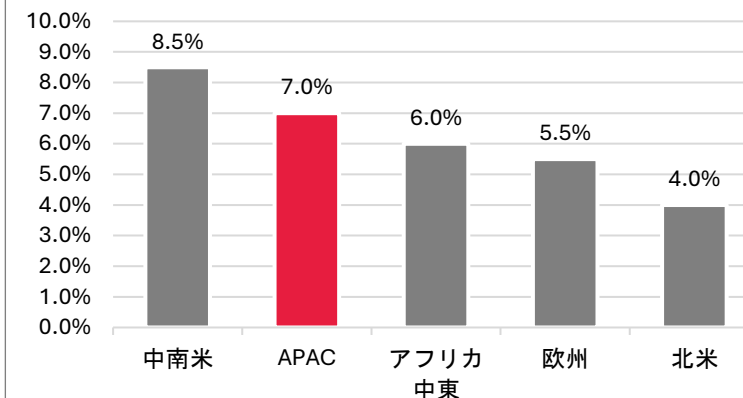
有利な日本市場環境

- ✓ 国民皆保険制度
- ✓ 迅速な償還
(規制当局の承認後90日以内)
- ✓ 日本の患者におけるドラッグロス・ドラッグラグ低減に向けた政府施策

APACは世界で2番目に 成長率の高い製薬市場

市場成長率(年平均成長率%)

(2019 - 2027)



出所: IQVIA Market Prognosis, Sep 2022; IQVIA Institute, Nov 2022.

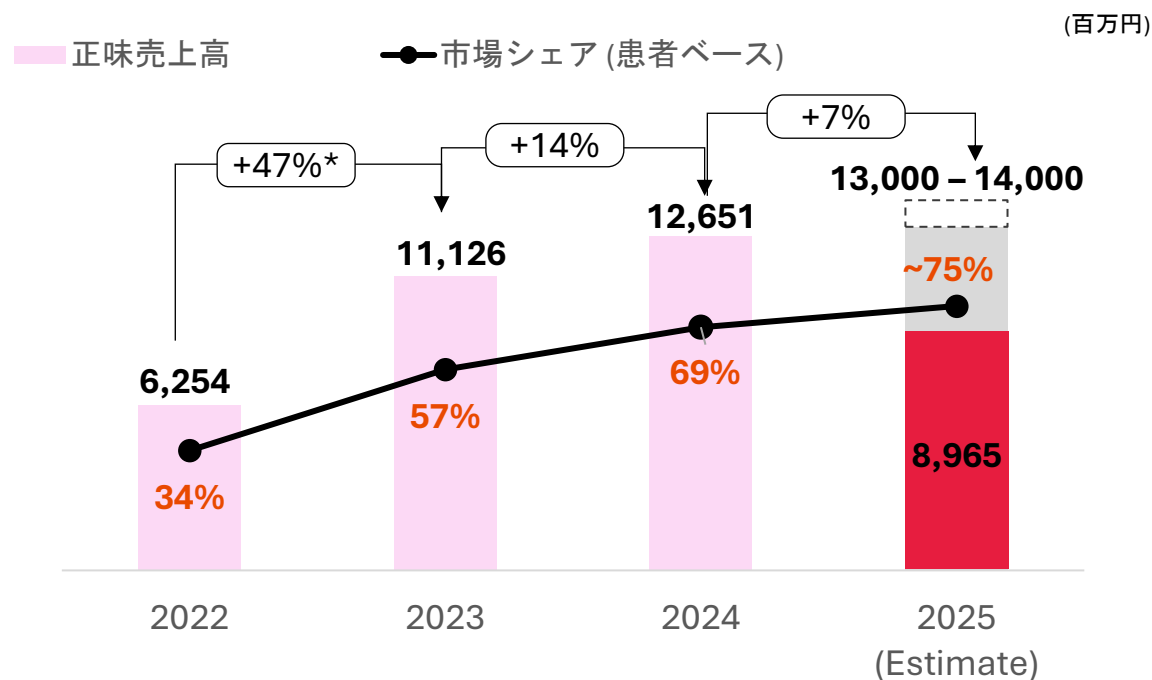
APAC (中国を除く) には、日本、韓国、オーストラリア、ブルネイ、カンボジア、インドネシア、ラオス、マレーシア、ミャンマー、ニュージーランド、フィリピン、シンガポール、台湾、タイ、ベトナムを含む



ピヴラッツ®(クラゾセンタン、エンドセリンA受容体拮抗薬) 動脈瘤性くも膜下出血(aSAH)患者における脳血管攣縮の予防を目的とした 当社初の上市製品



ピヴラッツ®の売上成長率



2025年ピヴラッツ®のハイライト

- ✓ 発売開始から2025年9月までにPIVLAZ®で治療を受けた患者は **23,000人**
- ✓ 市場シェアは**73%**に到達
(2025年8月時点の平均値)
- ✓ STROKE 2025 年次総会で**103件**の抄録を発表
- ✓ 学会が「クラゾセンタン最適使用マニュアル」を策定、2026年2月に刊行予定

ピヴラッツ®は現在、日本で標準治療 (SoC) として確立

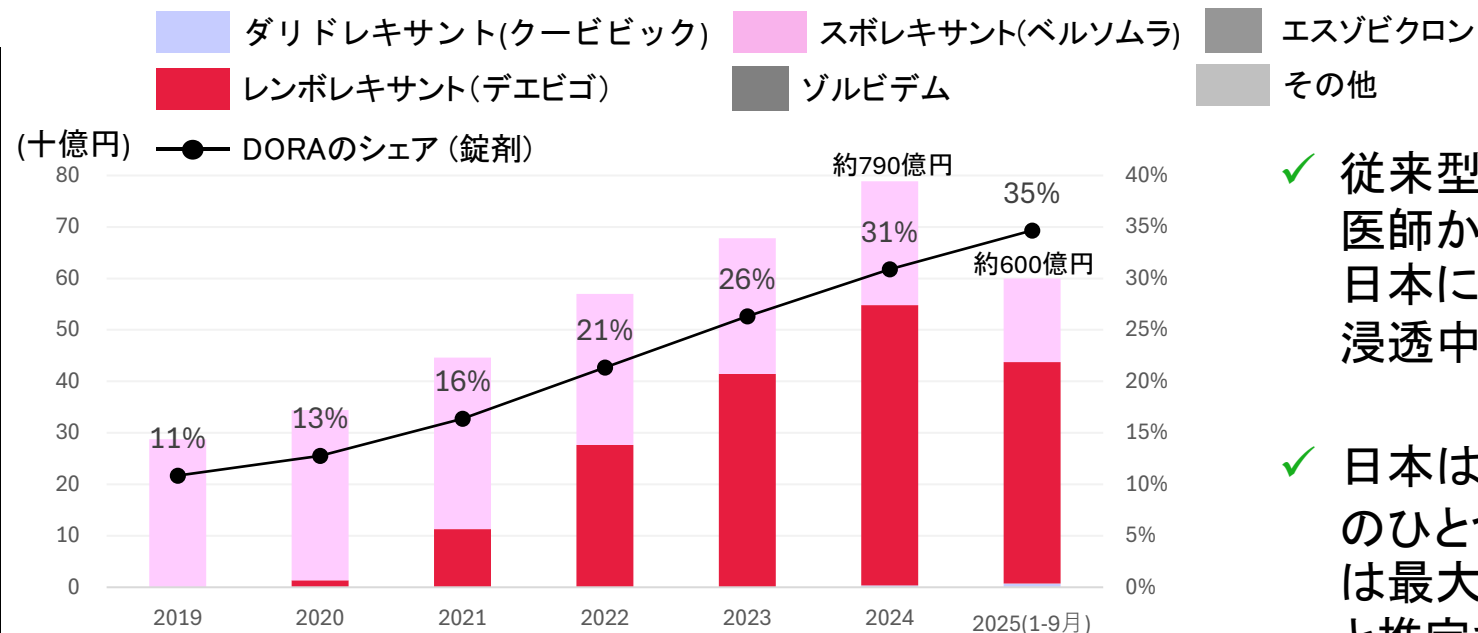


クービビック®*: 新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬 (DORA)

DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している



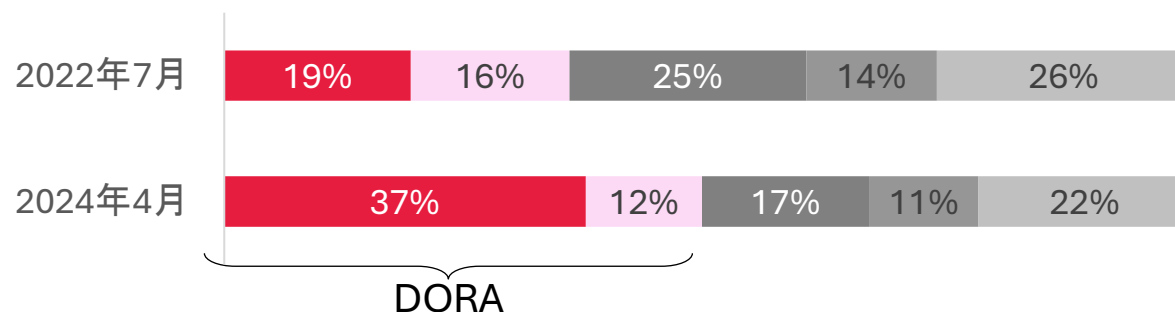
薬価ベース売上
および市場シェア



✓ 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

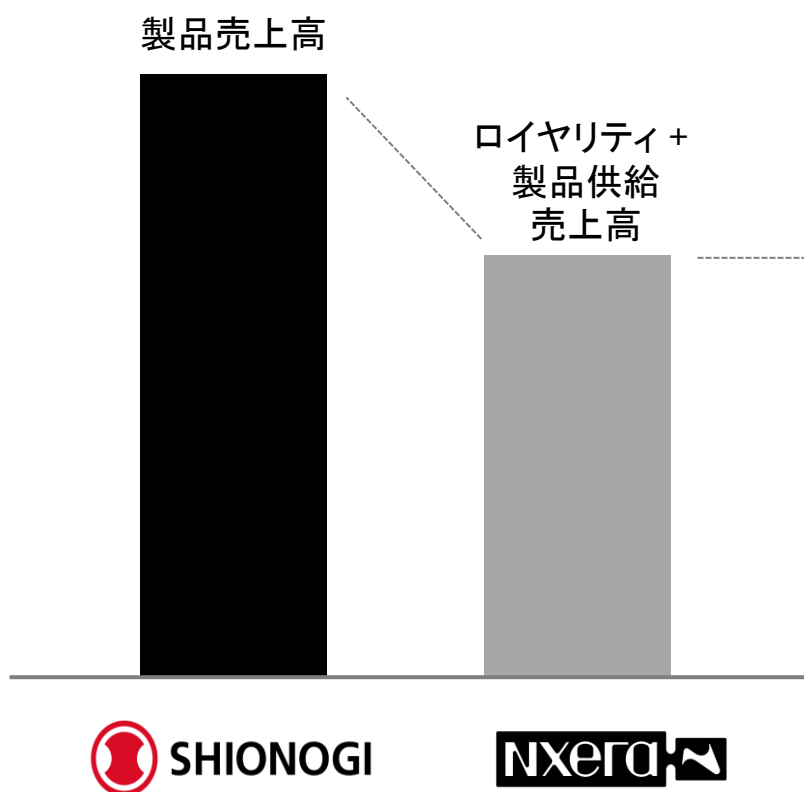


クービビック®の売上・利益構造のイメージ

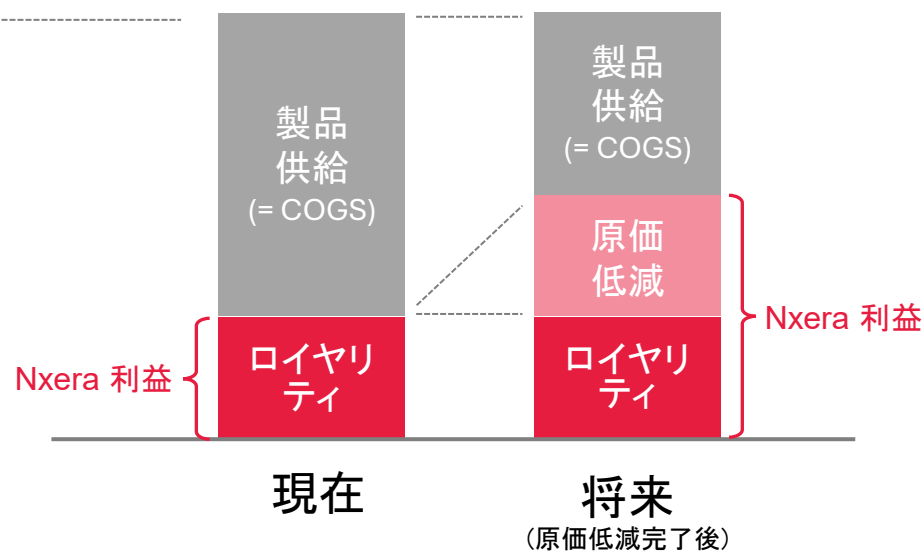
利益は当面はロイヤリティ収入によるが、将来は原価低減効果による利益増大が寄与



売上構造



当社の利益構造



サプライチェーン最適化

サプライチェーン全体最適化に向けた包括的戦略

これまでの実績

- ✓ ライセンス元から独立した Nxera のサプライチェーンを確立
- ✓ 10月に第2の原薬供給源に関する規制当局の承認を取得

今後の計画

- ✓ 原材料のさらなるコスト最適化を実現
- ✓ 製剤化および包装の最適化



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



13.0 – 14.0 Bn JPY

(薬価ベース: 157～169億円)

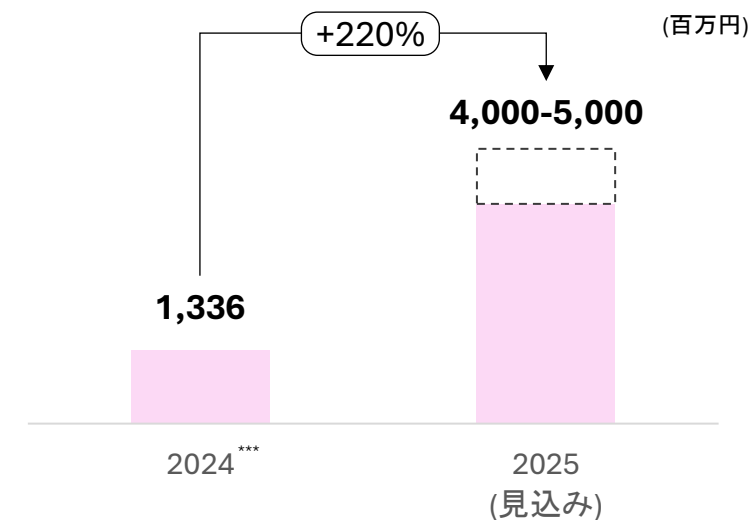
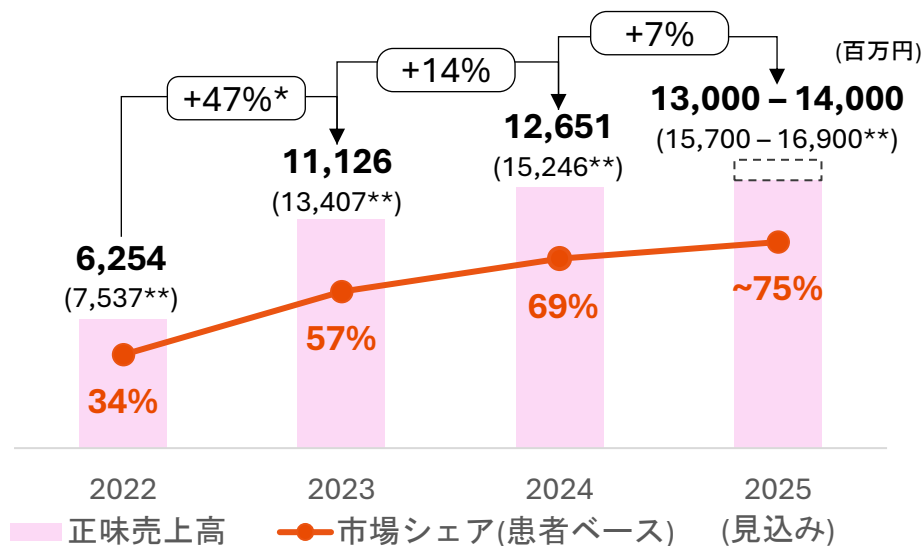
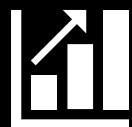
+7%

4.0 – 5.0 Bn JPY

(塩野義の26/3期予想25億円)

+220%

売上推移



出所: MDV DPC hospital data

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



デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) 治療薬 vamorolone (AGAMREE®) の導入

日本において、DMDに対する確立した治療はコルチコステロイド以外に存在しない

Vamorolone (AGAMREE®)

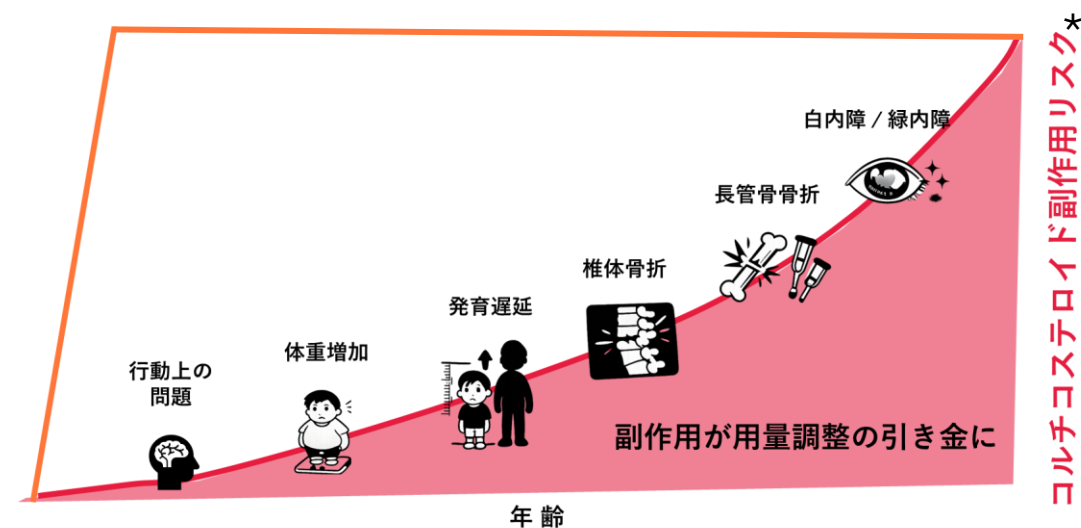
- コルチコステロイドと同じ受容体に結合するが、受容体の下流活性を調整することで異なる作用を示す、ファースト・イン・クラスの薬剤候補
- Nxeraは日本、韓国、オーストラリア、ニュージーランドにおける開発権を保有
- DMD治療は限られた施設に集約されており、PIVLAZ®と約70%の販売シナジーが見込まれる



デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)

- DMDは希少で生命を脅かす神経筋疾患
- 進行性の筋機能障害を特徴とし、歩行能力の喪失、呼吸不全、心臓疾患、早期死亡に至る
- コルチコステロイド以外の有効な治療法が乏しく、既存のコルチコステロイド治療では多くの重篤な有害事象を引き起こす

コルチコステロイド投与量



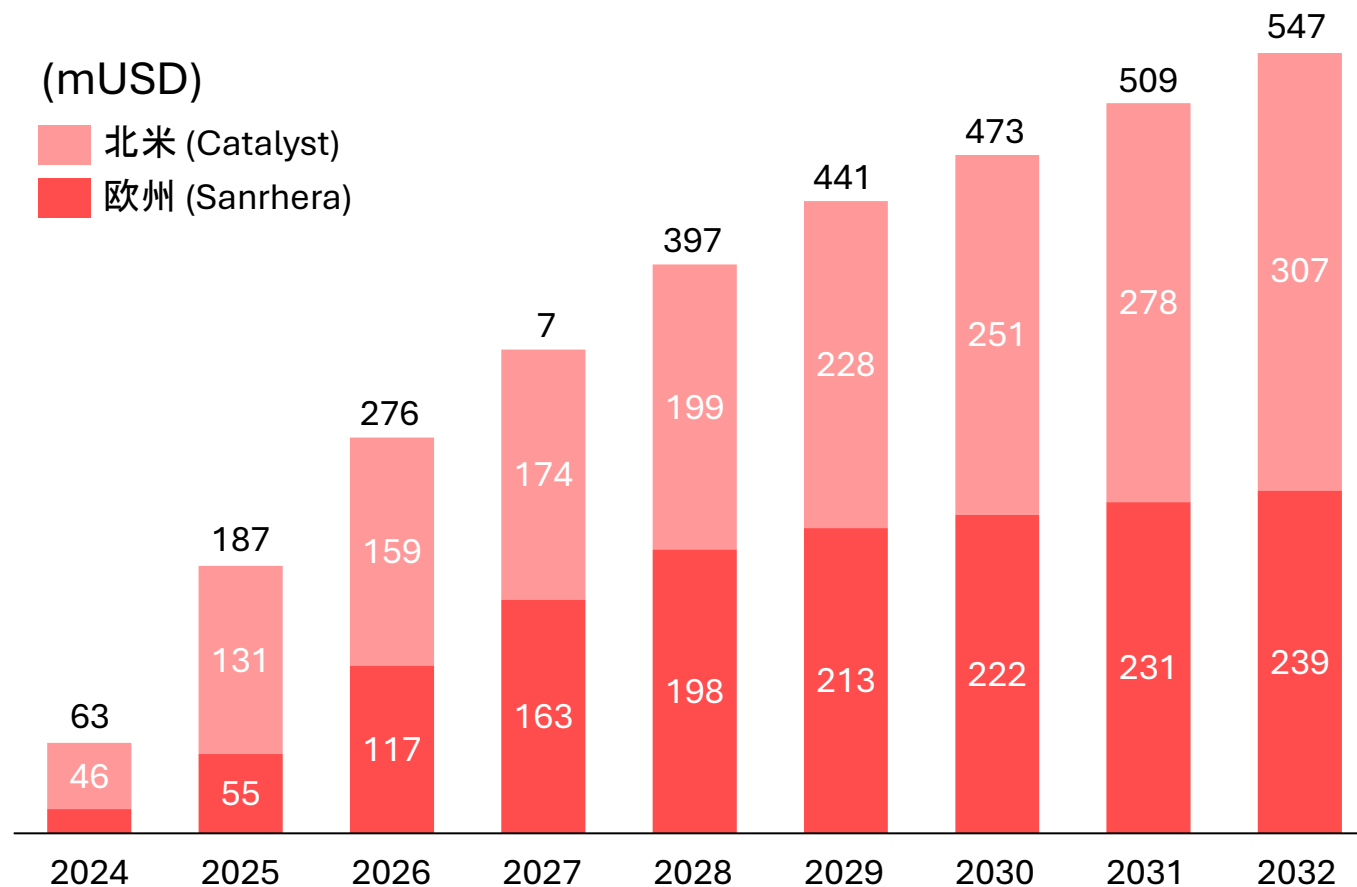


Vamorolone (AGAMREE®) は、忍容性の高いステロイドのニーズに応える

従来のコルチコステロイド治療と比較して、治療関連有害事象のリスクが低減

- Vamoroloneは、標準療法であるコルチコステロイド治療の限界に立ち向かう
- 直近のGUARDIAN臨床試験のトップライン結果により、標準的なコルチコステロイドと比較してVamoroloneは**有効性を維持し、安全性が顕著に改善**していることが示された
- コルチコステロイド関連有害事象の低減(例):
 - 成長 – 正常な成長を維持($p < 0.0001$)
 - 骨の健康 – 椎体骨折率の低下($p = 0.0061$)
 - 眼の健康 – 白内障発生率の低下($p < 0.015$)、緑内障は発生例なし
- 副作用低減により、患者さんが**治療継続**しやすい

他国におけるVamoroloneのコンセンサス売上予測

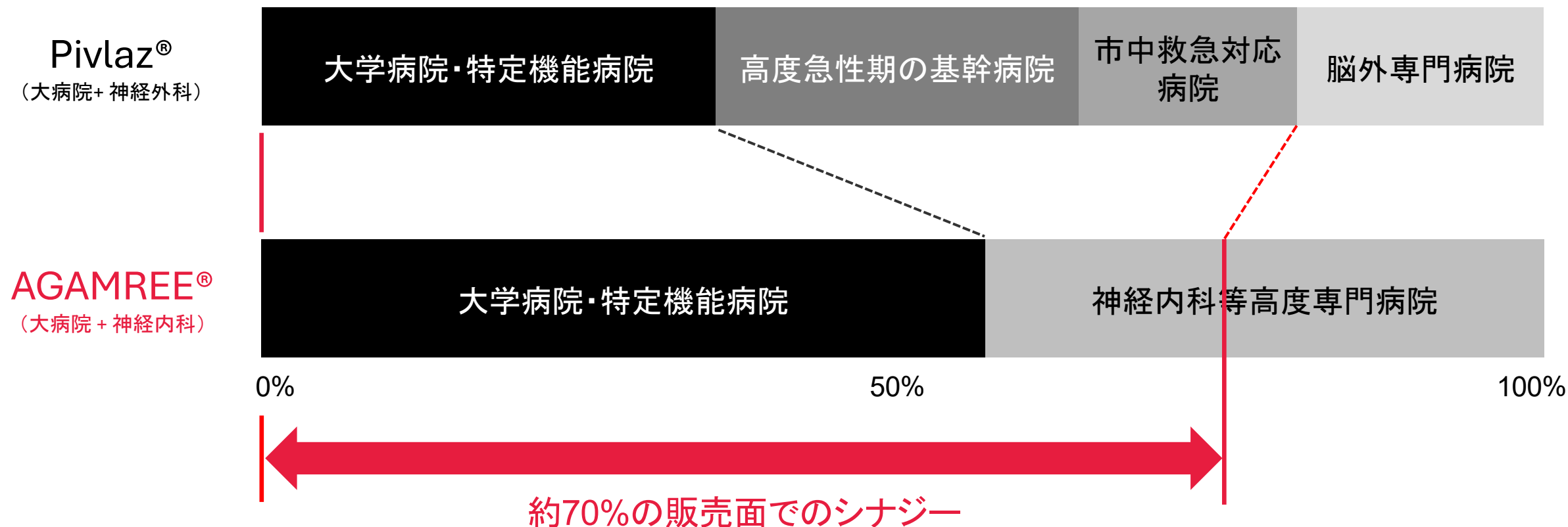




Pivlaz®とのシナジー

DMD治療は限られた施設に集約されており、施設ベースでPivlazと約70%の販売シナジーが見込まれる

処方量に占める各病院の割合



A high-speed photograph of a green liquid being poured, creating a series of interconnected droplets and splashes. The liquid is a vibrant green color. The background is dark and out of focus, featuring several bright, out-of-focus light sources in shades of orange, red, and yellow, creating a bokeh effect. The overall composition is dynamic and artistic.

創薬プラットフォーム

最先端のサイエンス

05



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



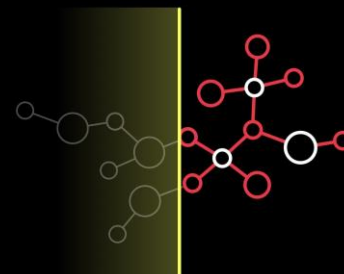
NxStaR™

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

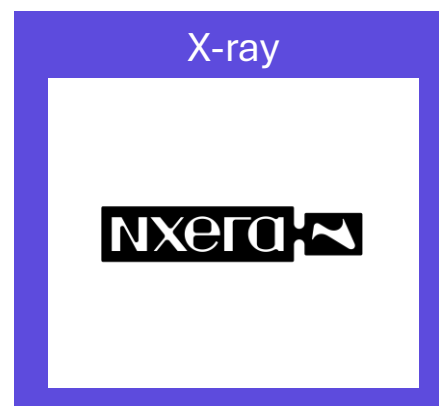
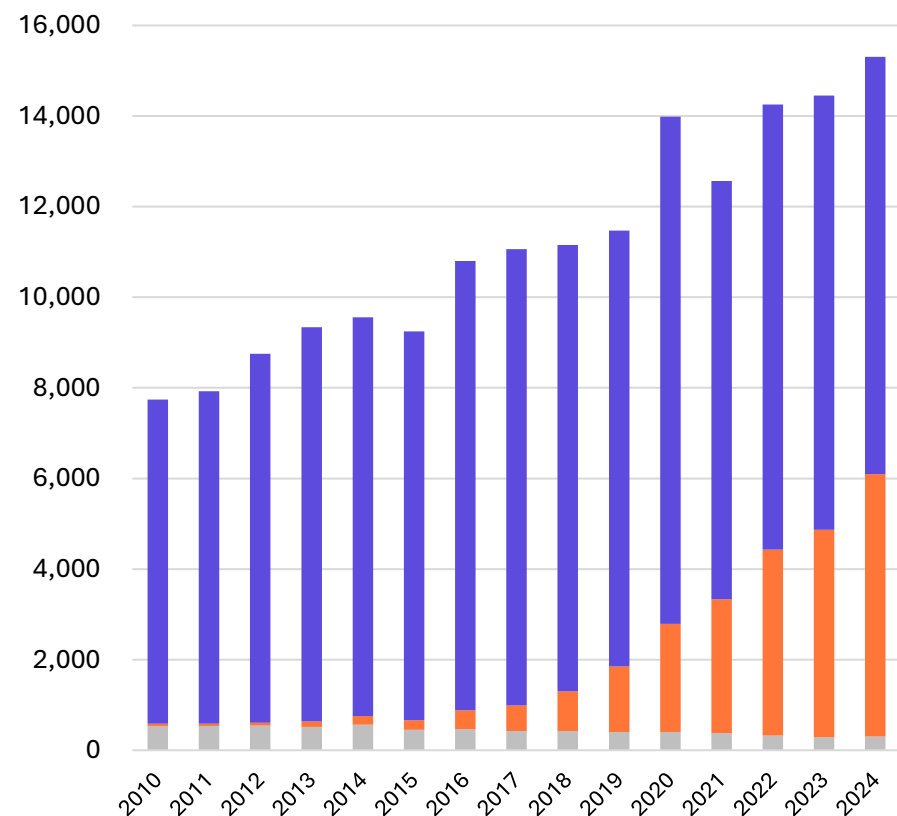
	臨床開発候補品	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
合計	29	18	5	1
アクティブ(2025年8月時点)	✓ 15	✓ 11	✓ 4	✓ 1



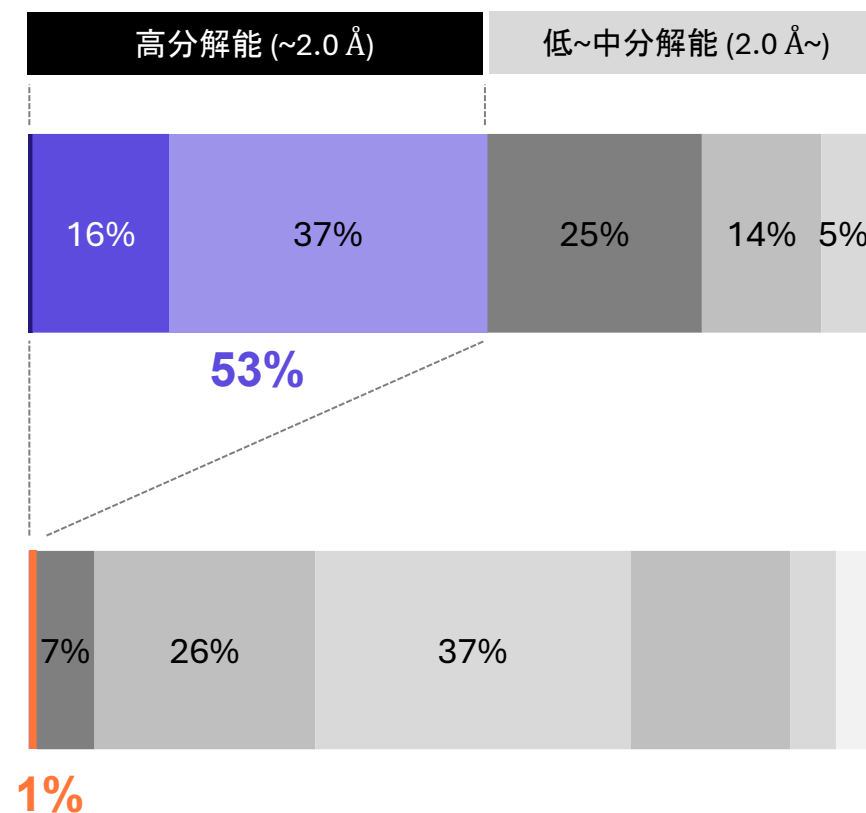
PDB登録の構造解析数と技術別分解能

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



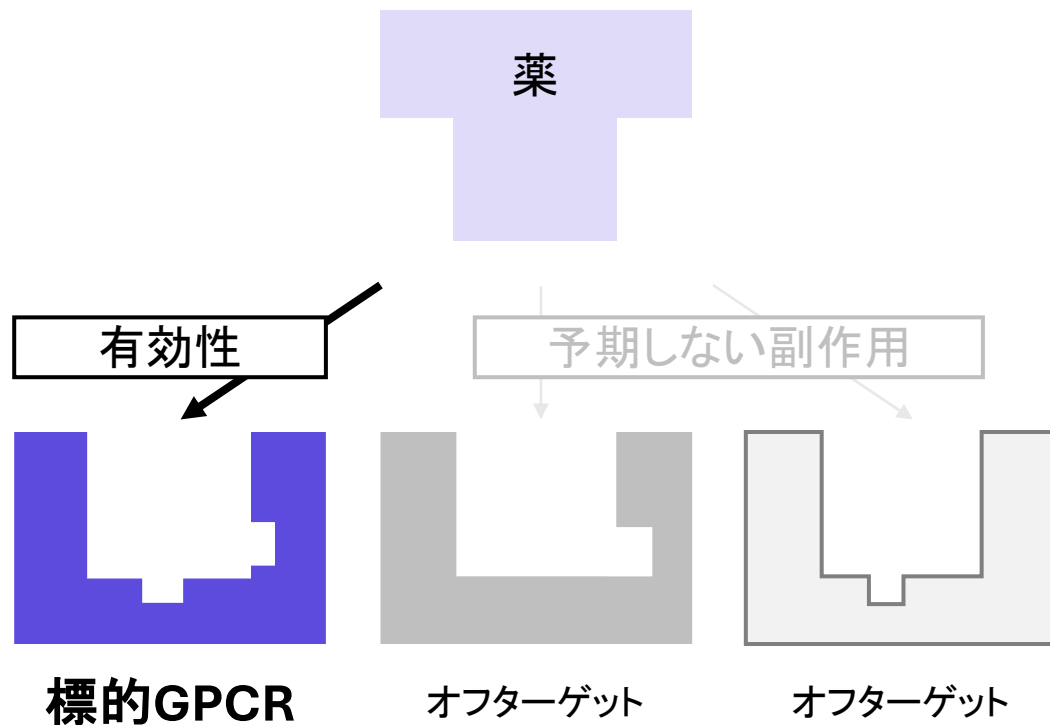


当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

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

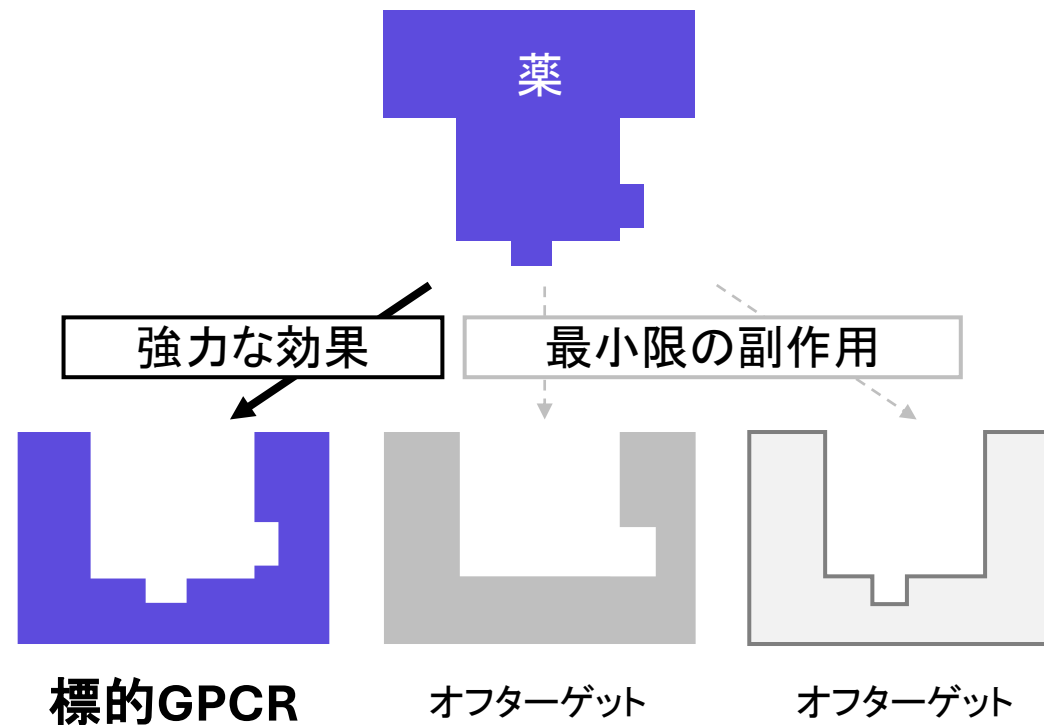
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

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

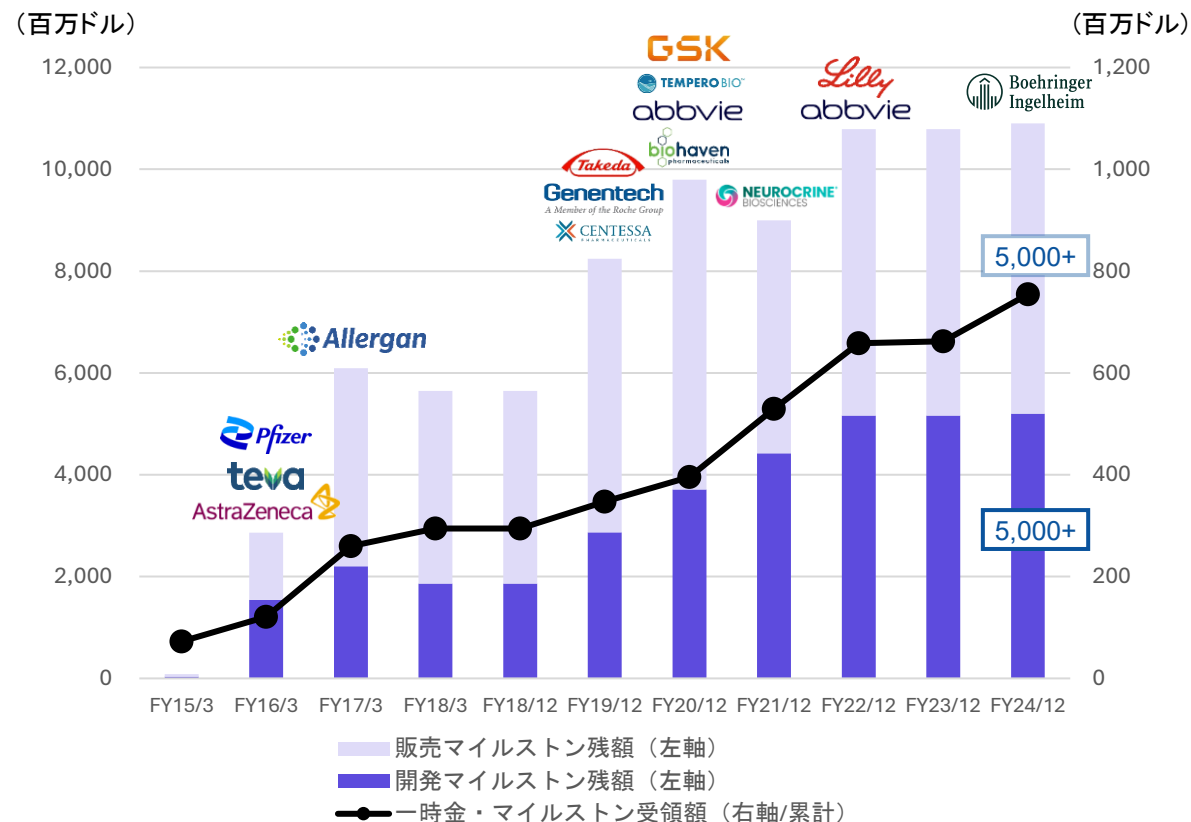




グローバルの大手製薬との豊富な取引実績があり…

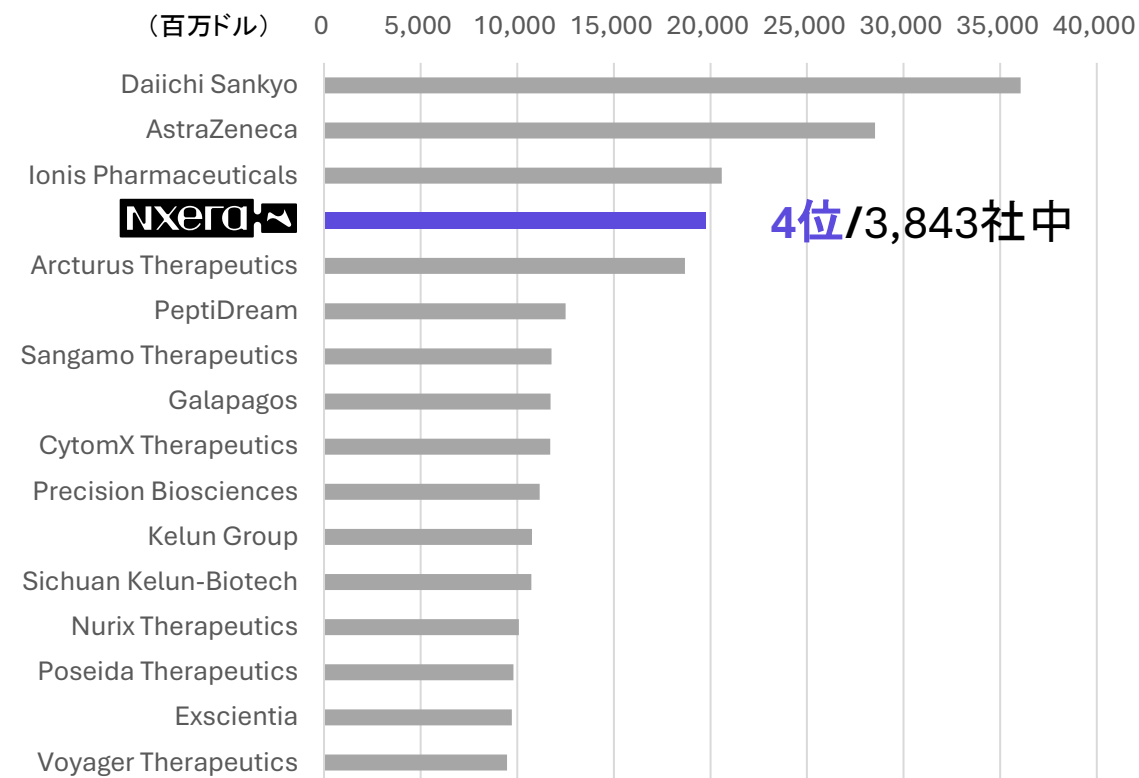
既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

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
	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
	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
	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
	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
	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
	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
	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
 <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
	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

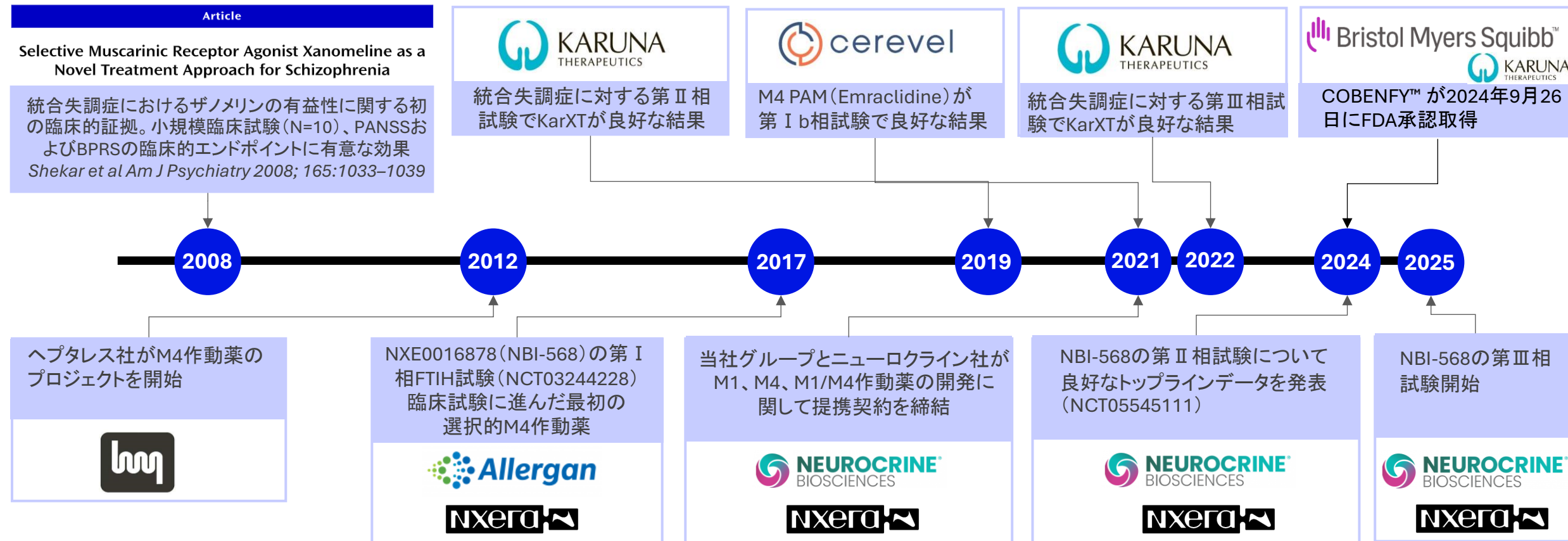
¹将来受け取る権利を有するオプション行使料、開発承認 商業化マイルストンの総額。これとは別に製品が販売された場合には、ロイヤリティとして売上高の一定割合（通常1桁中盤～2桁の段階的ロイヤリティ）を受領する権利を有する。

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



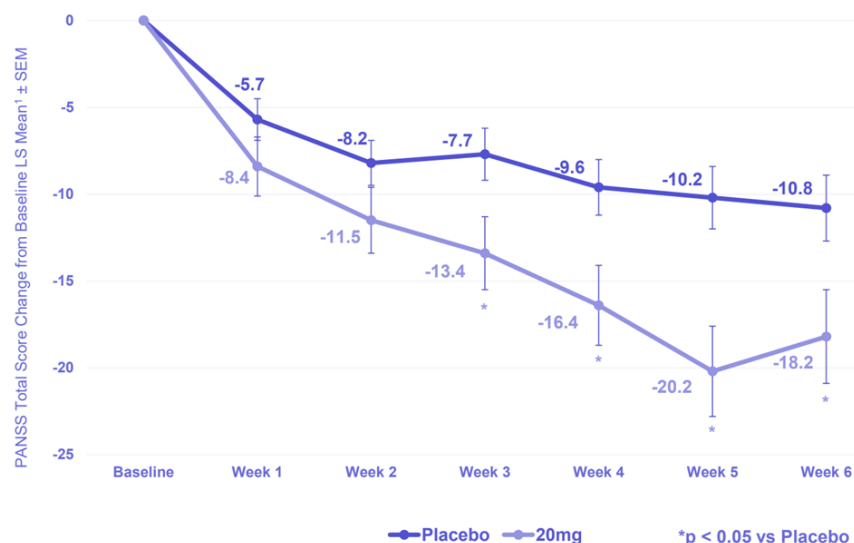
注: NBI-568は臨床試験中の薬剤であり、いかなる用途においても規制当局からは未承認



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



20mg QD Efficacy Data Week 4 – Week 6			
Week	4	5	6**
PANSS Total Score			
LS Mean ¹	-16.4	-20.2	-18.2
LS Mean Difference vs. Placebo ¹	-6.8 p = 0.008	-10.0 p < 0.001	-7.5 p = 0.011
Effect Size ²	0.53	0.72	0.61

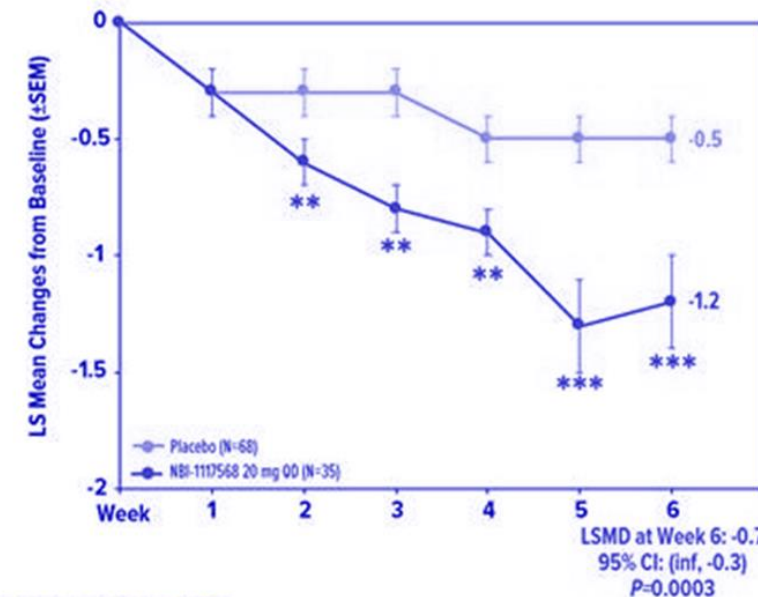
** Primary Endpoint = Week 6



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

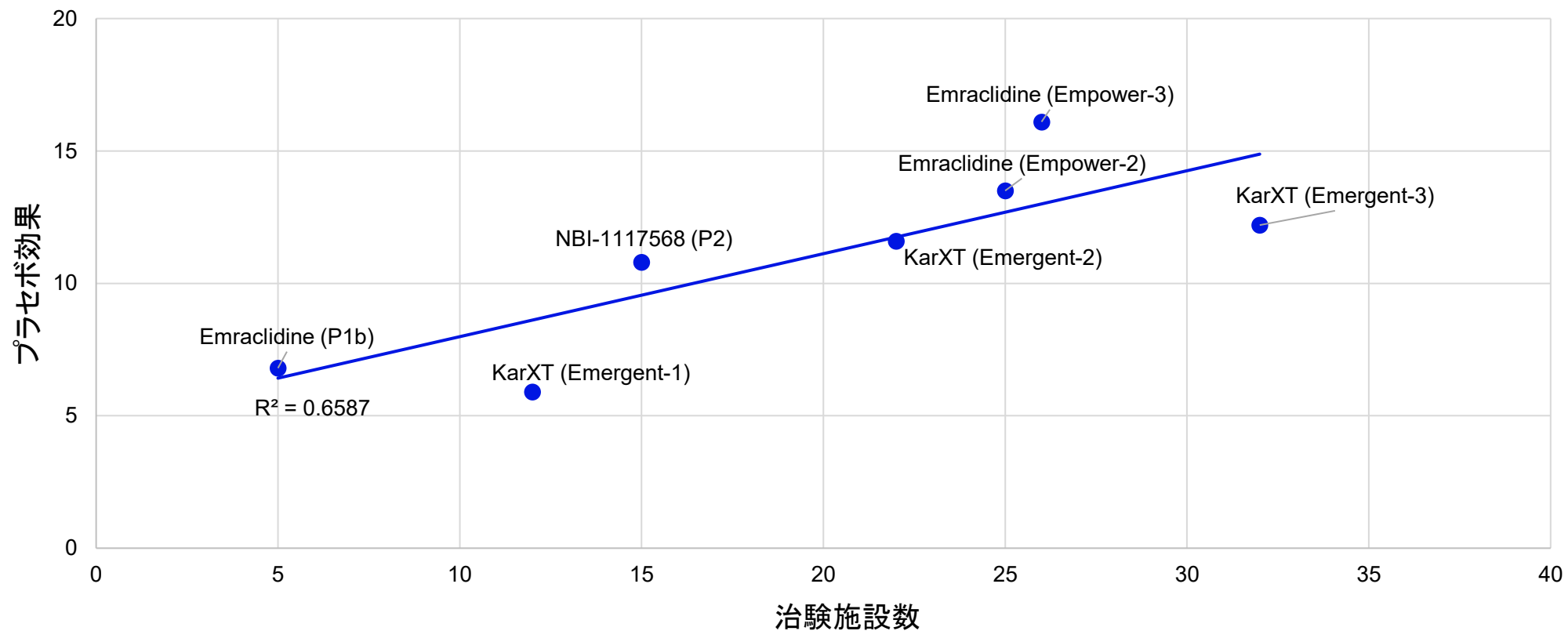
NBI-1117568のP3試験は実薬:プラセボは1:1、施設数を約20施設に絞り込み、プラセボの影響を極力排除する

	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/NCT07105098	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	580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

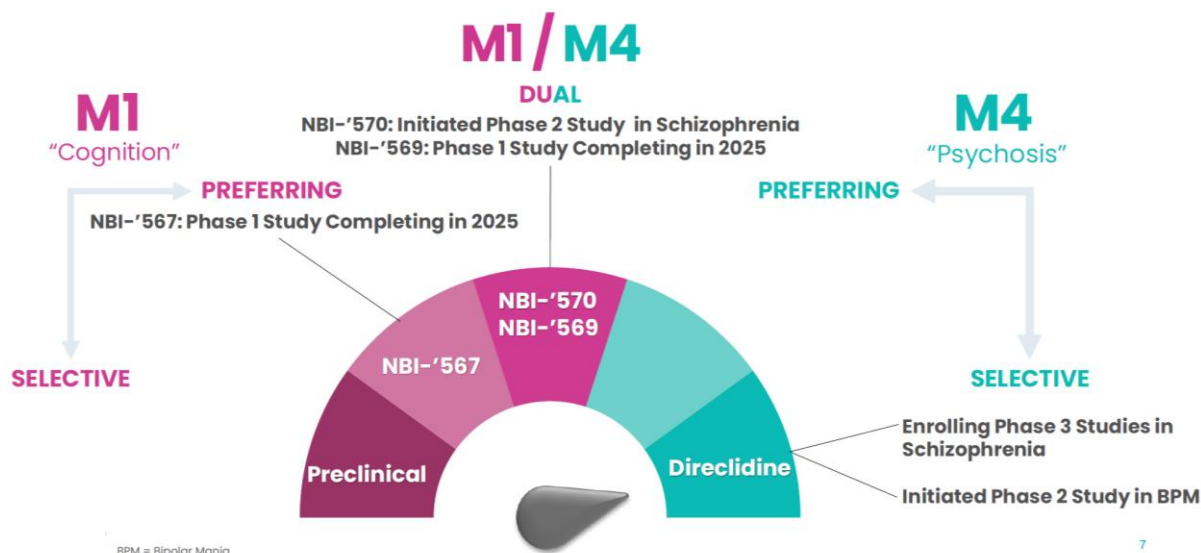
Adverse Event, %	KarXT (n= 340)	Placebo (n= 343)
★Nausea	17.1%	3.2%
★Constipation	15.0%	5.2%
★Dyspepsia	12.1%	2.3%
★Vomiting	10.9%	0.9%
★Hypertension	5.9%	1.2%
Dry Mouth	5.0%	1.5%
Tachycardia	4.7%	2.0%

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広範なムスカリン作動薬ポートフォリオを開発中

5つの臨床段階のプログラムが実施中



製品名/ 開発コード	ターゲット	適応症	Phase1	Phase2	Phase3
Direclidine (NBI'568)	M4 作動薬	統合失調症			
Direclidine (NBI'568)	M4 作動薬	双極性障害			
NBI'570	M1/4 作動薬	統合失調症			
NBI'569	M1/4 作動薬	ADに伴う 精神症状			2026年にPh1b試験開始予定
NBI'567	M1 作動薬	ADの認知症 状/LBD			2026年にPh2試験開始予定

M1、M4、M1/M4という複数メカニズムに亘る臨床段階プログラムが5つ
NxWave™で設計された選択的オルソステリック作動薬で、複数のアプローチにより認知症状および精神症状を治療へ



OX2受容体作動薬ORX750 – NT1/NT2/IH

初期P2a データにより3つの適応症でベストインクラスとなり得るプロファイルを確認

NT1/NT2/IHでベストインクラスの可能性

ORX750

CRYSTAL-1 Phase 2a study in NT1, NT2 and IH



Evaluate safety, tolerability, and PK in NT1, NT2, and IH patients

Efficacy assessment registrational endpoints: **Maintenance of Wakefulness Test (MWT)**, **Epworth Sleepiness Scale (ESS)**, **weekly cataplexy rate** (NT1 patients only), and overall symptom improvement*

Exploratory efficacy assessments will measure sleep, **cognition, attention, memory**, and general health

***First robust demonstration** of oral OX2R agonist addressing wakefulness needs of patients across NT1, NT2 and IH...*

- ✓ **Generally favorable safety and tolerability profile**
- ✓ **Statistically significant, clinically meaningful and dose-dependent efficacy**
- ✓ **Dose escalation** across ongoing and future cohorts with **once-daily and split-dose regimens**, enabled by Phase 1 data

...Expect to initiate registration program in Q1 2026

P2a試験のアップデート

Endpoints

覚醒維持検査(MWT) >20 min change at 1.5mg vs baseline (with half of participants >30 min). *NT1*
>10 min change at 4mg vs baseline. *NT2*

エプワース眠気尺度 (ESS) 1.5mg = 5.1 vs 18.7 (placebo). *NT1*
4mg = 8.1 vs 15.9 (placebo). *NT2*

週当たりのカタプレキシー発作頻度(WCR) 87% relative reduction at 1.5mg vs placebo. *NT1*

参加者 55 participants (NT1, NT2 & IH)

次のステップ Registrational Program initiation planned for Q1 2026

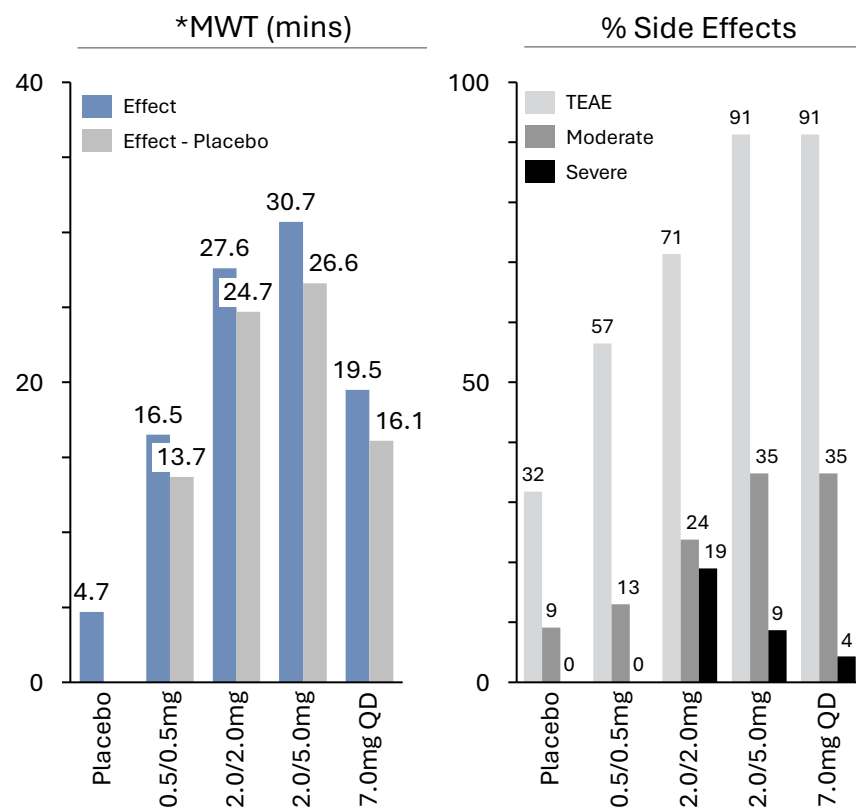
初期フェーズ2a試験データにより、経口オレキシン2受容体(OX2R)作動薬が全3適応にわたり患者の覚醒ニーズに応えることを確認。2026年第1四半期に承認申請を見据えたレジストレーショナルプログラムを開始予定



OX2作動薬の競合データ整理

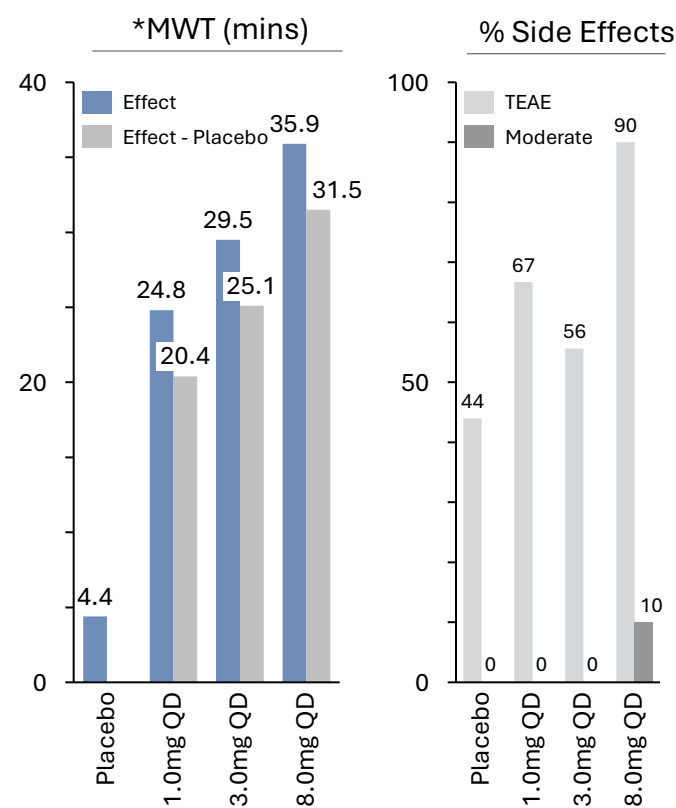
ORX750は安全性・有効性ともに良好な結果をP1試験結果で報告

TAK-861



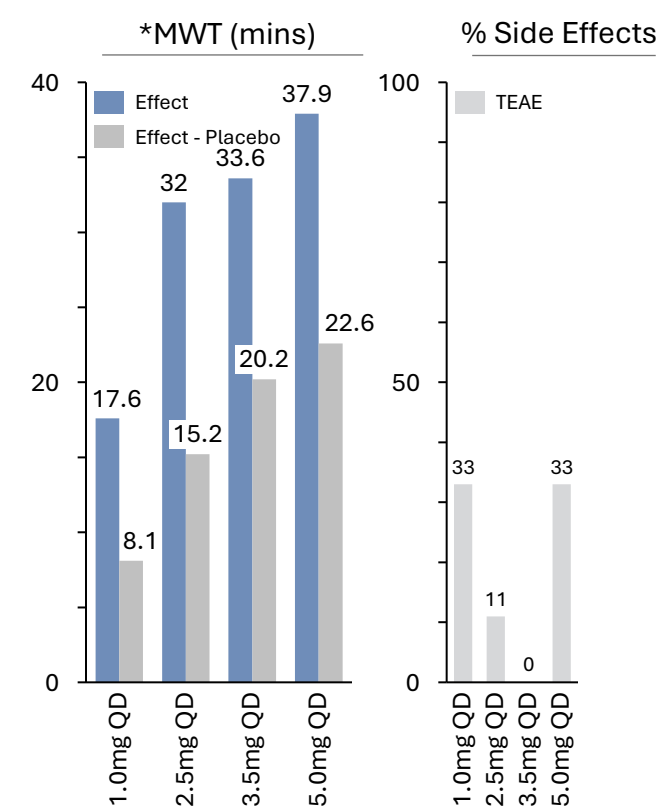
- Ph2b NT1 patients
- n=112 (Week8)

ALKS2680



- Ph1b NT1 patients
- n=34

ORX750



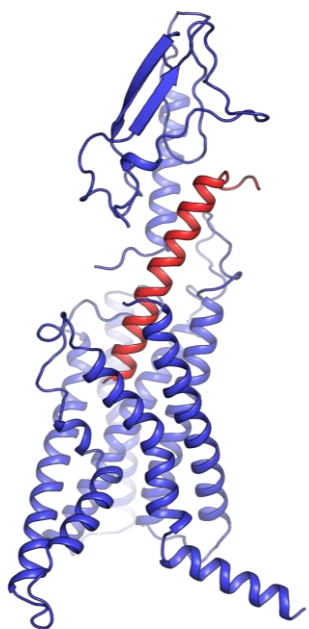
- Ph1b healthy volunteers
- n=10



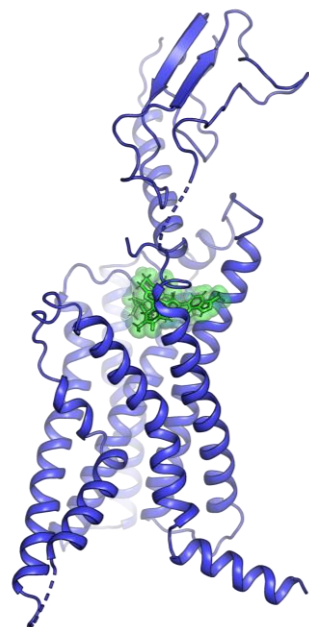
肥満・代謝性疾患・内分泌疾患に対する次世代治療薬開発に注力

GPCRの強みを武器に、アンメット・メディカル・ニーズが最も高い領域で低分子プログラム開発を進捗

他の追随を許さないGPCR構造ベース創薬力



ペプチドと結合した
GLP1受容体の構造



低分子と結合した
GLP1受容体の構造

- 肥満および代謝性疾患に対するベストインクラスとなり得る次世代治療法の開発を戦略的に推進する広範な新規パイプラインを立ち上げ
- ペプチド医薬品が主流の市場において、利便性、容易な用量設定および経口薬による継続的な体重管理
- 肥満の重大な合併症を標的：心血管疾患、腎疾患、肝疾患への治療効果
- 副作用軽減と治療が困難な患者への拡大

メカニズム	NXera 
GLP-1 ag	
GIP ant	
Amylin ag	
その他	

「NxWave™」プラットフォームにより差別化された低分子医薬品を提供できる独自のポジション



NXE'149: 経口GPR52作動薬 – フェーズ2試験開始準備完了

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

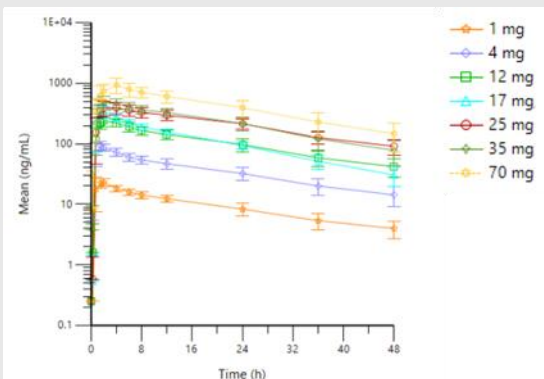
フェーズ1試験のハイライト:

- ✓ 安全性・忍容性ともに良好
- ✓ ヒトPKデータはばらつきが小さく、1日1回投与に適したプロファイル
- ✓ 高い中枢移行性
- ✓ PDデータから、統合失調症および関連疾患の治療に関わる脳回路への作用を示唆

フェーズ2試験への移行準備:

- 2動物種で3か月GLP毒性試験完了
- 2動物種でEFD試験完了
- 代謝物特性評価完了
- 原薬および製剤はフェーズ2試験開始分を確保済み

SAD PK データ



EEGおよびERP指標

- NXE'149はMMNおよびASSR応答の基盤となる前頭側頭回路を明確に活性化（MMNとASSRはいずれも統合失調症における再現性の高いバイオマーカー）
- 安静時EEGデータから、投与10日目に覚醒度の上昇が示唆

認知

Cogstate評価において、投与10日目に全用量で認知機能の改善を確認

General cognitive composite	Dose 1	Dose 2	Dose 3	Dose 4
Attention/Executive Function	0.89	1.5	0.69	0.64
General Cognition	1.1	0.84	0.77	0.55

Standardized differences between each dose of NXE'149 compared to placebo



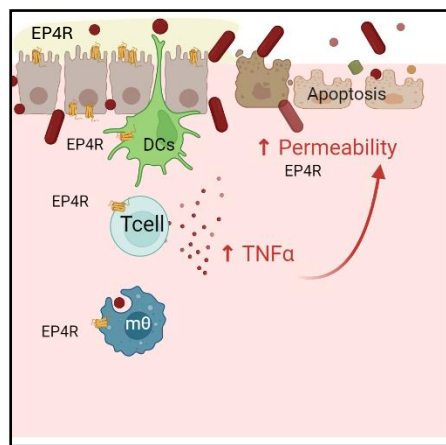
NXE'744:EP4受容体作動薬 - 炎症性腸疾患 (IBD) - P2試験開始準備完了

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

- 承認済IBD治療薬は免疫調節薬が中心であり、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受容体作動薬は、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開発が制限されてきた

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



BioRender.comで作成

開発進捗

- ヒト初回投与試験の全項目において臨床での投与が完了
 - SAD/MAD試験は完了しており、現時点で懸念される有害事象は認められておらず、全身曝露も確認されていない
 - 経口投与後に腸管組織中での高濃度が確認され、腸管局在型プロファイルを確認
 - UC患者コホートの投与が完了 (n=6) し、データ読み出し (PK測定) は近日中を予定
 - インドメタシン負荷試験コホート1は完了し、最終データ読み出しは2026年3月予定 (中間解析は進行中)
 - 戦略策定に向けフェーズ1試験のバイオマーカーデータを解析中

臨床試験リンク:

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



EP4受容体拮抗薬NXE'732 – 進行性固形がん

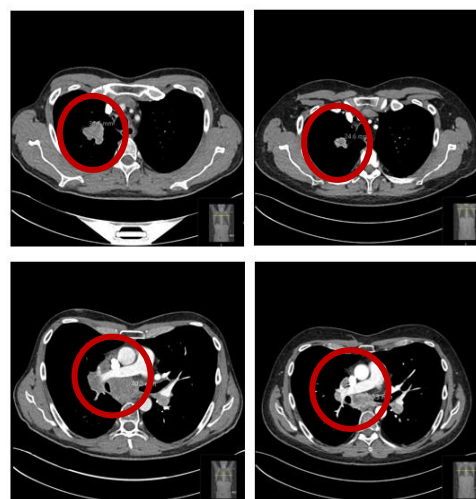
アテゾリズマブ併用のフェーズ2a拡大パートが進行中

疾患メカニズムとの関連

- EP4が活性化すると、免疫反応を抑え、腫瘍の増殖を促進する
- EP4拮抗は有望 – 胃がんでのONO-4578 最新臨床データにより支持
- NXE-732は高い力価・選択制・安全性の実現を目指して設計

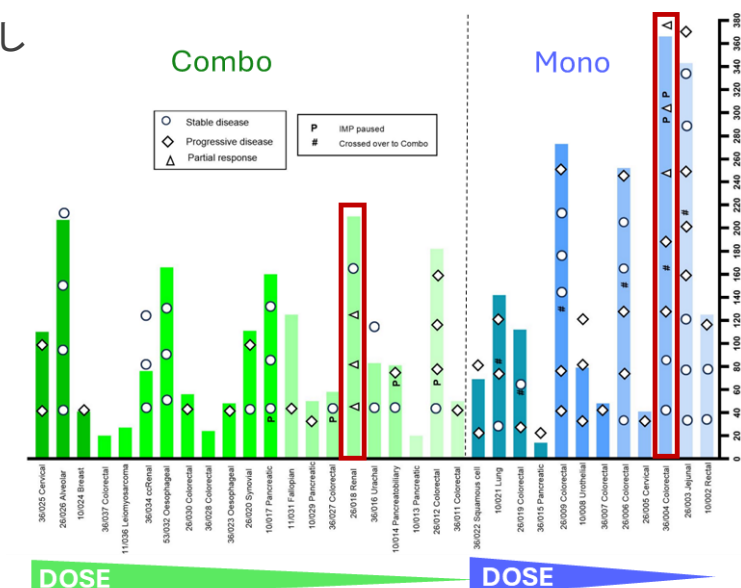
フェーズ1試験結果

- NXE-732の最新データは、ベストインクラスとなり得るプロファイルを示唆
- 併用群で、MSS結腸直腸がん(MSS CRC)と抗PD-L1抵抗性の淡明細胞型腎細胞がん(ccRCC)で、部分奏効(PR)を2例観察。いずれも腫瘍縮小は30%超
- 標的エンゲージメントを確認、DLT(用量制限毒性)なし



ベースライン

3か月



フェーズ2a 拡大試験が進行中:

MSS大腸がん (PIK3CA、HER2± ほか)、胃/食道胃接合部 (GOJ) 腺がん、腎 (ccRCC)、前立腺 (CRPC)

最新の連結業績

06



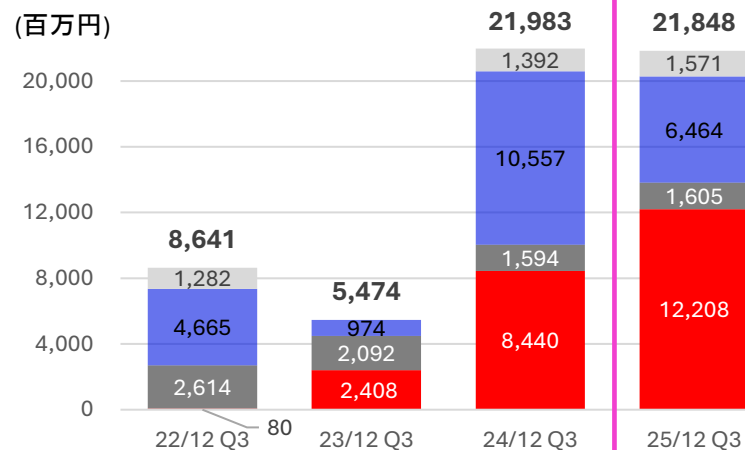
主要決算数値

医薬品販売事業が成長も、マイルストーンは前年同期比減少でコア営業利益は赤字

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)

マイルストーン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)
- アッヴィ社との創薬提携においてマイルストーン達成10百万米ドル(9月)

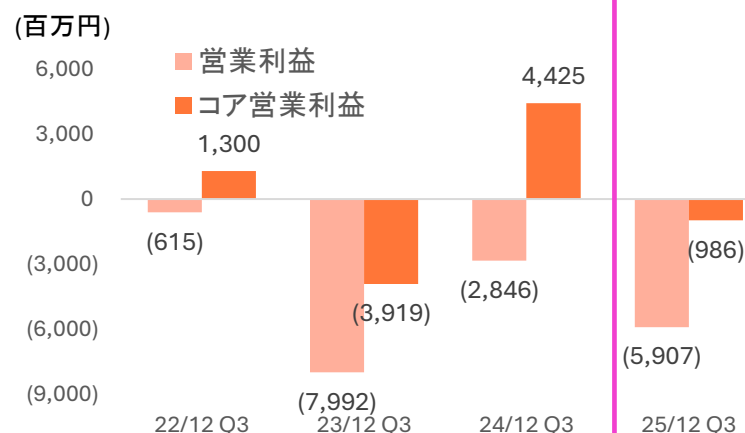
ロイヤリティ他

- 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(8,965百万円)が前年比7%増加
- クービビック®の製剤供給・ロイヤリティの計上開始

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)

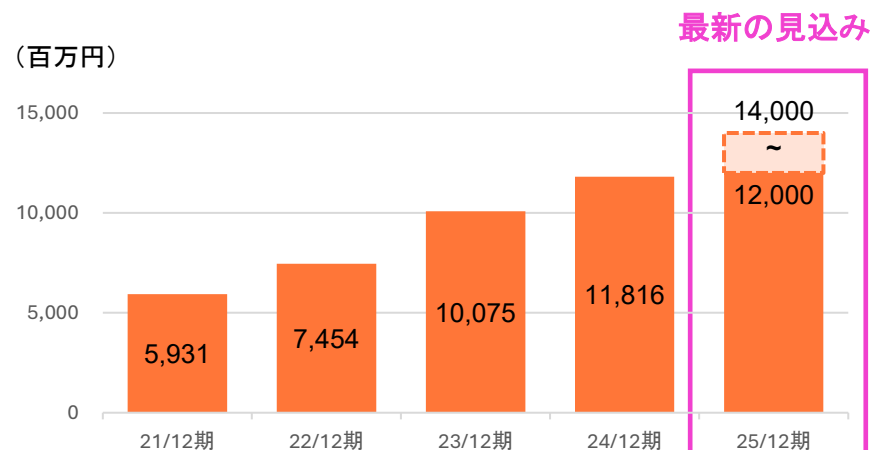
¹ 契約開始時に認識された契約一時金

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



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

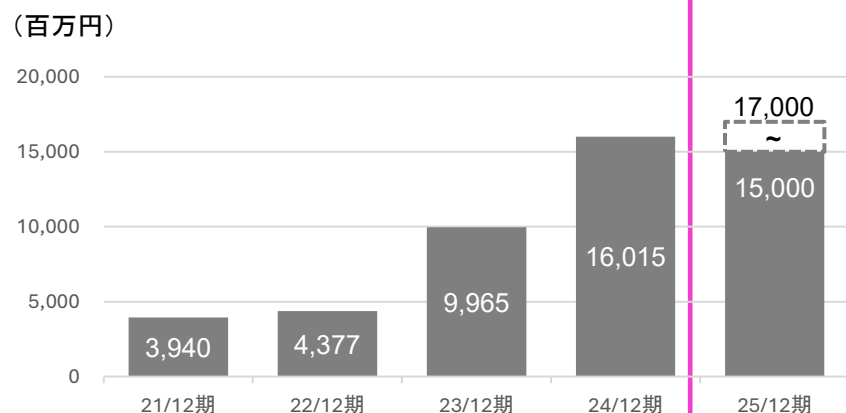


研究開発費(IFRSベース)

12,000百万円～14,000百万円(据え置き)

主なポイント

- 研究開発費圧縮により現時点でレンジ内に収まる見込み
- 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M1/M4作動薬	低分子	ADに伴う精神症状	 NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117570	ムスカリンM1/M4作動薬	低分子	統合失調症	 NEUROCRINE BIOSCIENCES							
NBI-1117567	ムスカリンM1作動薬	低分子	ADの認知症状/LBD	 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	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							

注:* 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です

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								
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	2025-12-15	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-1117568	M4 作動薬	双極性障害	Ph2	150	Yes	2025-12	2028-02	2025-12-17	NCT07288320	-
導出	NBI-1117569	M1/M4 作動薬	ADに伴う精神症状	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	NBI-1117570	M1/M4 作動薬	統合失調症	Ph2	120	Yes	2025-12	2027-08	2025-12-17	NCT07288333	2023-508814-40-00
導出	NBI-1117567	M1 作動薬	AD/LBD	Ph1	-	-	-	-	-	-	-
導出	PF-07054894	CCR6 拮抗薬	炎症性腸疾患	Ph1	40	Yes	2022-11-07	2025-11-11	2025-12-05	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	2025-10-29	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	2026-06-15	2025-12-24	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	2026-01-14 2026-01-14	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）

** 2025年10月末時点でTemperoBioのTMP-301はプログラムの進行を一時停止しており、今後の選択肢が検討中です



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泡がダメージを受け呼吸障害をきたした病態
AD	Alzheimer's Disease	アルツハイマー病。脳の神経細胞の減少、脳の一部の萎縮により認知機能が徐々に低下していく神経変性疾患で、認知症の中で最も多いタイプ
DLB	Dementia with Lewy Bodies	レビー小体型認知症。大脳皮質の神経細胞にレビー小体という物質が沈着し、認知症を生じるもの。アルツハイマー病に次ぎ、2番目に多い認知症



用語集(2/2)

創薬ターゲット関連		
M1	Muscarinic M1 Receptor	ムスカリンM1受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。学習、記憶に関与していると考えられている
M4	Muscarinic M4 Receptor	ムスカリンM4受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ド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
GangNam-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

2

Thank you

BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS