EXTERNAL
NON-CONFIDENTIAL

コーポレートプレゼンテーション

2026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。

目次

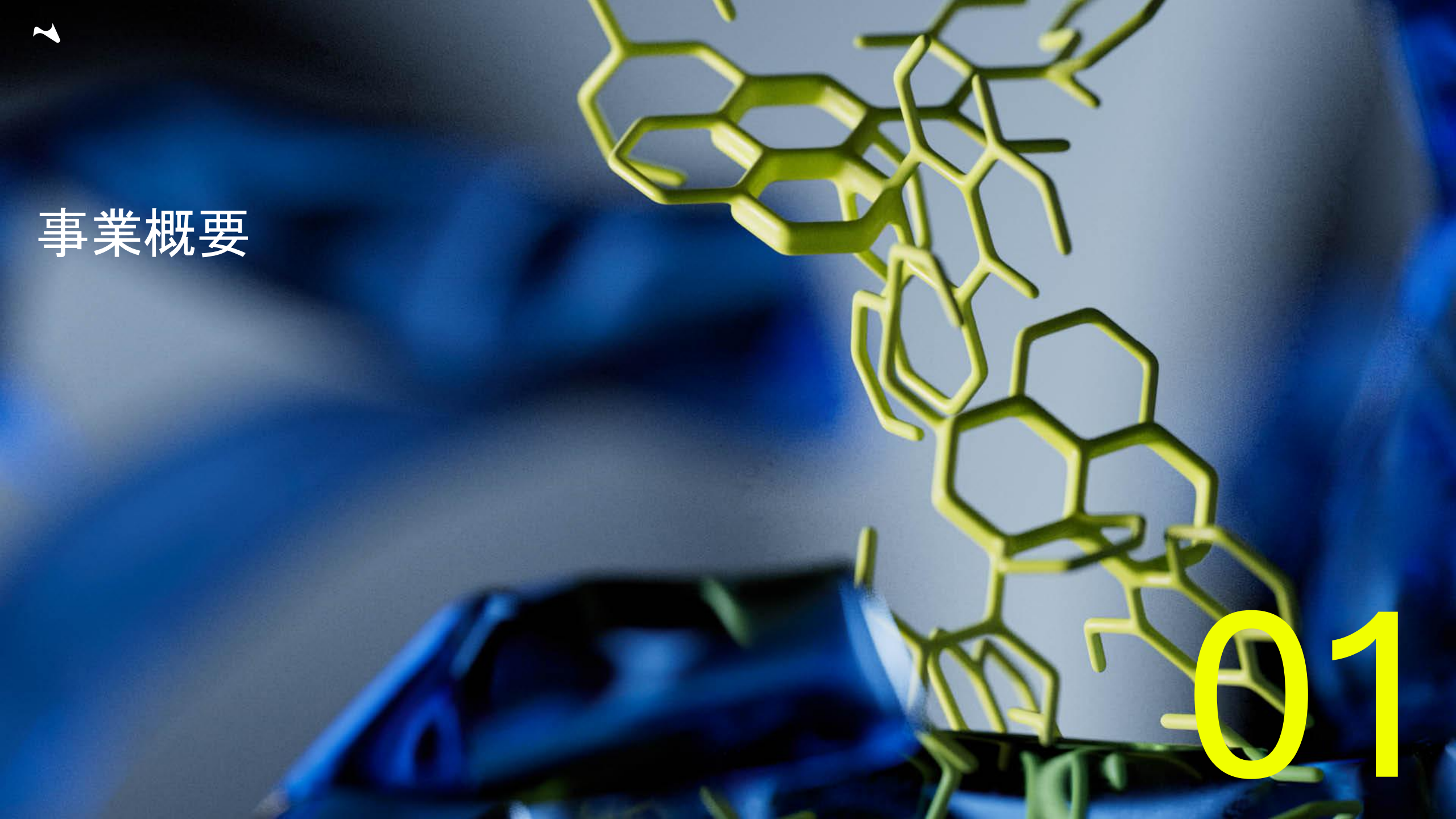
01 事業概要

02 決算と今後の見通し

03 コマーシャル

04 創薬プラットフォーム

05 補足資料



事業概要

01

ネクセラファーマの概要

日英の拠点を中心に、日本発のグローバルバイオ企業を目指す

創薬プラットフォーム

Platform

“世界トップのイノベーションを持つ創薬企業”

Phase3	1
Phase2	5
Phase1	5

従業員：約150名

コマーシャル

Commercial

“アンメットニーズにこたえる高収益な製薬企業”

上市済	2
Phase3	2

従業員：約150名

これまでの歩み

1990年に創業し、近年では戦略的買収を軸に事業を拡大

1990年
そーせいグループを日本に創業

2004年
東証マザーズ（現グロース）に上場

2005年
英アラキス社を買収

2015年
英ヘプタレス社を買収

2023年
スイス・イドルシア社のアジア事業を買収

2024年
ネクセラファーマにブランドを統合

主要パイプライン

	基礎～前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	申請	上市済み
Commercial				Vamorolone デュシェンヌ型筋ジストロフィー Lucerastat ファブリー病		ピヴラッツ® 脳血管攣縮 クービビック® 不眠症 SHIONOGI
Platform 自社開発	肥満・代謝領域中心のベストインクラス	EP4作動薬NXE'744 炎症性腸疾患 GPR52作動薬NXE'149 統合失調症	EP4拮抗薬NXE'732 進行性固形がん CANCER RESEARCH UK			
Platform 提携	創薬提携 Lilly 糖尿病/代謝性疾患 abbvie 神経疾患	M_1M_4作動薬NBI'569 AD*の精神症状 NEUROCRINE BIOSCIENCES OX2作動薬ORX489 神経疾患 Lilly	M_4作動薬NBI'568 双極性障害 NEUROCRINE BIOSCIENCES M_1M_4作動薬NBI'570 統合失調症 NEUROCRINE BIOSCIENCES M_1作動薬NBI'567 AD*/LBD* NEUROCRINE BIOSCIENCES OX2作動薬ORX142 神経疾患 Lilly	M_4作動薬NBI'568 統合失調症 NEUROCRINE BIOSCIENCES OX2作動薬ORX750 ナルコレプシー/IH Lilly		
その他				Cenerimod SLE VIATRIS		シーブリ他 COPD/喘息 NOVARTIS

一定段階まで自社開発して、価値を高めた上でパートナー企業に導出。その際、疾患によっては日本他の権利を自社で保持

* 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Cancer Research UKが第Ⅰ/Ⅱa 相臨床試験の資金を拠出。権利は当社が保有。

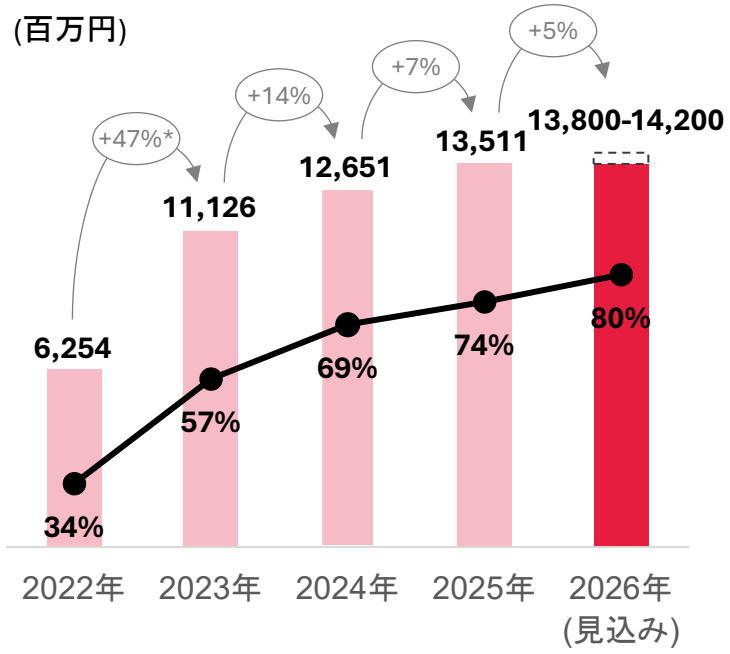
Commercial

コマーシャル事業

上市済み2製品の成長に加え、さらなる飛躍に向けて2026年初に新規製品を導入

ピヴラッツ® 点滴静注液 150mg

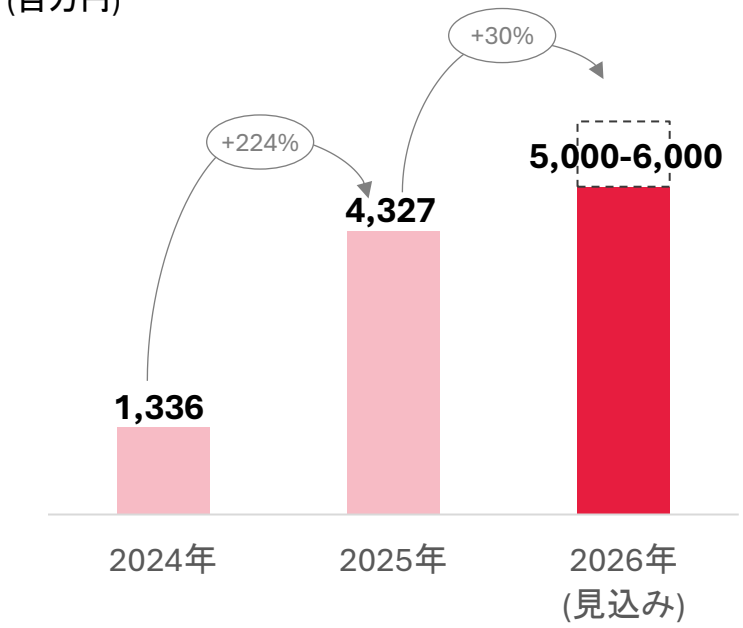
エンドセリン受容体拮抗薬 薬価基準収載



「クラゾセンタン投与法の実践的手引き」が2026年3月にリリース

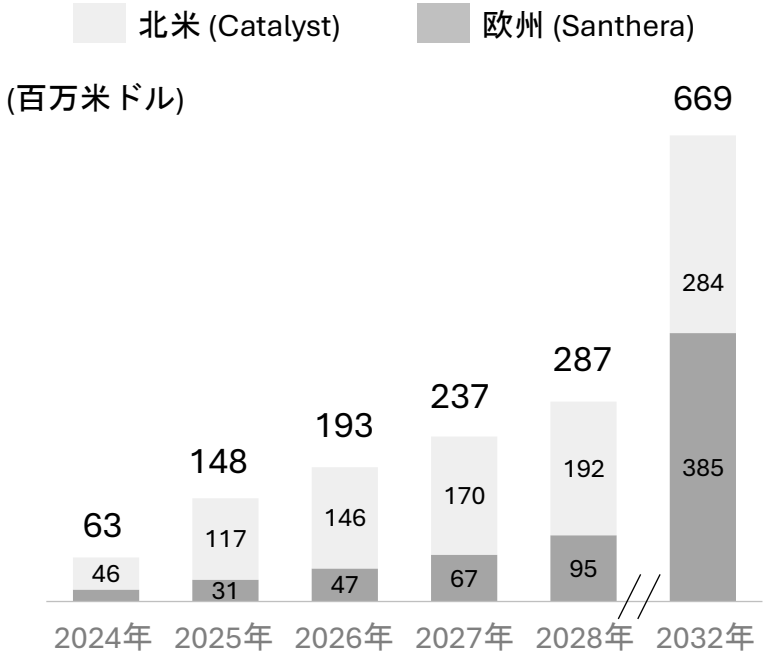
クービビック® 錠 25mg 50mg

不眠症治療薬 / オレキシン受容体拮抗薬 薬価基準未収載



塩野義製薬が販売を担当
当社は製品供給+ロイヤリティの権利

Vamorolone



既存ステロイド治療を置き換える可能性
ピヴラッツ®との販売シナジーは約70%

Platform

プラットフォーム事業

パートナーとの開発は順調に進展、自社開発品も良好なフェーズ1試験結果を発表

NEUROCRINE BIOSCIENCES

ムスカリン作動薬ポートフォリオ

プログラム	適応症	開発段階
Direclidine	統合失調症	フェーズ3
	双極性障害	フェーズ2
NBI'570	統合失調症	フェーズ2
NBI'569	ADの精神症状	フェーズ1
NBI'567	AD	フェーズ1
	LBD	

Direclidineの最初のフェーズ3試験結果は2027年の見込み

Royalty：1桁後半～10%台半ば
マイルストン総額：最大26億ドル

先行品のCobenfyのピーク売上予想は6,000億円超

CENTESSA PHARMACEUTICALS

オレキシン作動薬ポートフォリオ

プログラム	適応症	開発段階
ORX750	NT1/NT2/IH	フェーズ2
ORX142	神経疾患	フェーズ2
ORX489	神経疾患	-

ORX750は2026年前半にRegistrational試験へ

Royalty：1桁前半
開発・販売マイルストン

ORX750のピーク売上高予想は2,000億円超

GPR52作動薬 | EP4作動薬

ライセンス活動中

プログラム	適応症	開発段階
NXE'149	統合失調症	フェーズ1
NXE'744	IBD	フェーズ1

フェーズ1試験は成功裏に完了
フェーズ2試験準備完了

2026年中のライセンスを目指し
複数のパートナー候補と交渉中

NXE'744はインドメタシン負荷試験で初期的な有効性を示す

EP4拮抗薬 CANCER RESEARCH UK

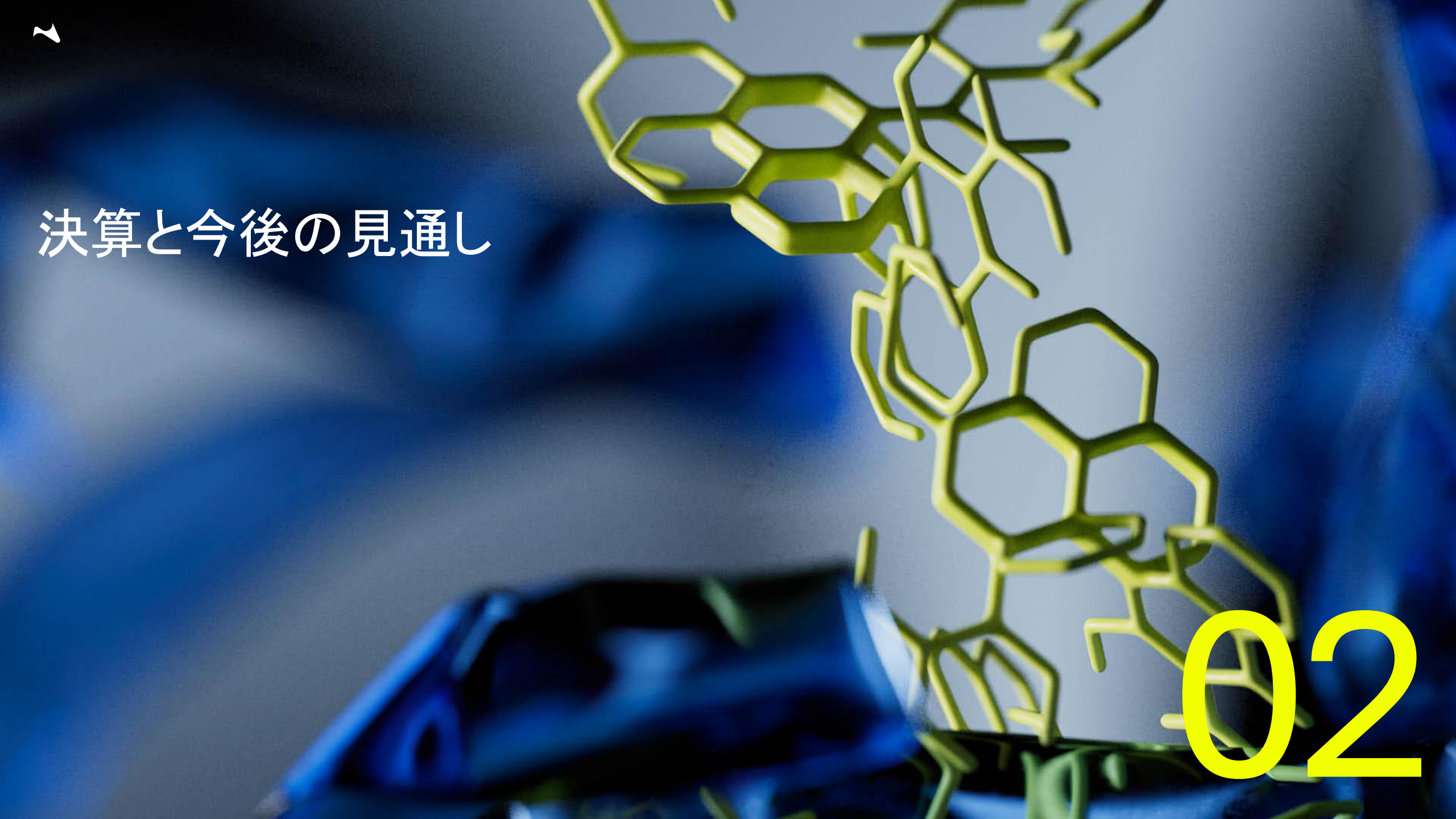
自社開発中

プログラム	適応症	開発段階
NXE'732	固形がん	フェーズ2

進行中のNXE'732のフェーズ2試験結果は2027年の見込み

グローバルの権利を
ネクセラファーマが保有

NXE'732は2例の部分奏功を含む初期的な有効性を示す



決算と今後の見通し

02

2026年の目標

01 製品関連の売上高195億円以上
(ピヴラッツ® + クービビック®)

Commercial

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を取得

Commercial

03 1つ以上の価値の高い提携契約を締結

Platform

04 パートナー企業によるフェーズ2試験を
1つ以上開始

Platform

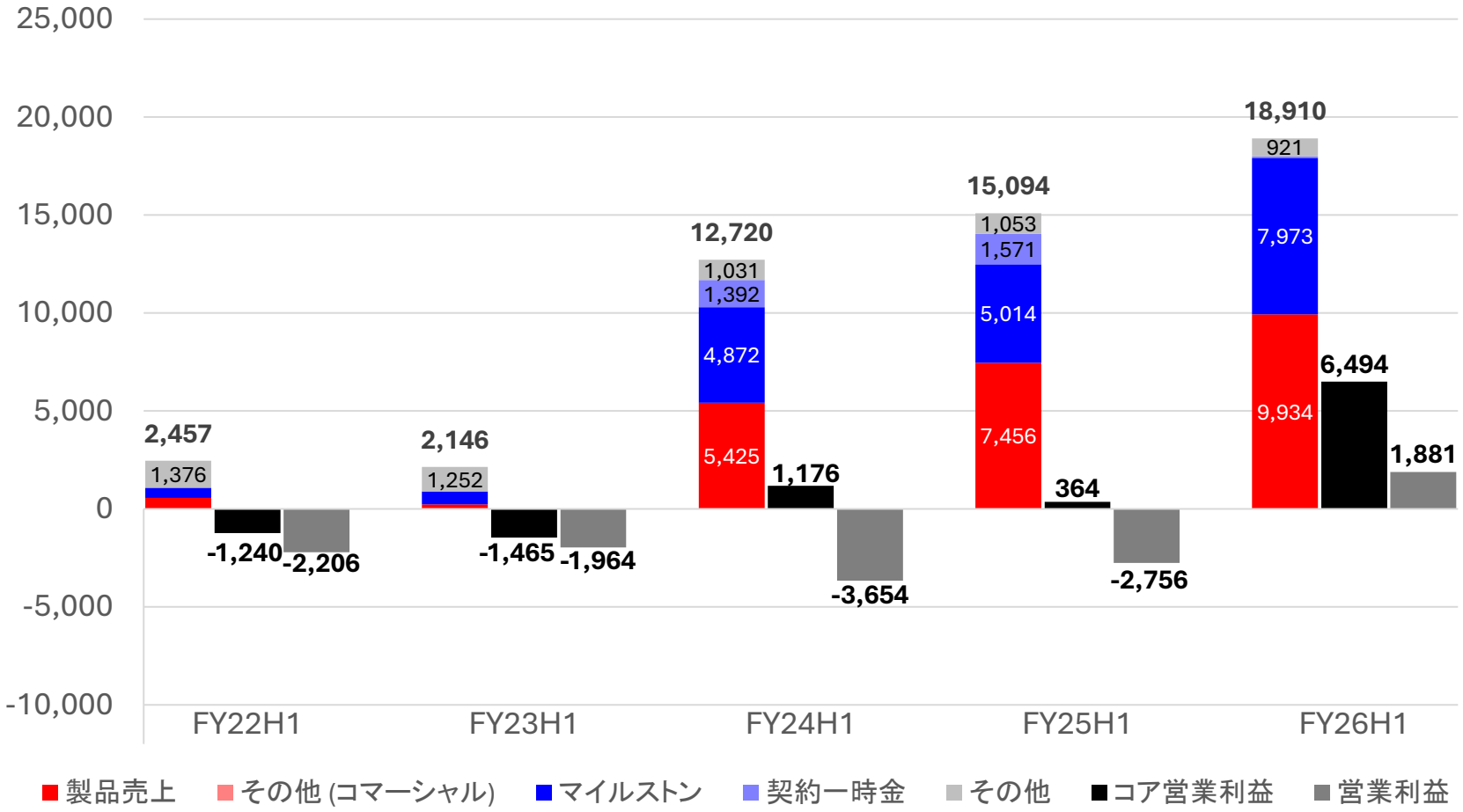
05 総コストを10%以上削減し、
IFRSベースでの通期黒字化を達成

Corporate

主要決算数値（2026年12月期1H）

コア営業利益、営業利益ともに黒字化達成

（百万円）



26年1Hの進捗

Platform

- ニューロクライン社、センテッサ社、リリー社、アッヴィ社などから複数のマイルストン受領
- M1/M4作動薬NBI'570のP2試験開始（22.5百万米ドル受領）

Commercial

- ピヴラッツ（前年比9%増）
- クービビック（前年比127%増）

Cost / Profit

- 肥満領域への投資は増加したものの、効率的な投資および資本配分により、研究開発費は減少（通期予想に対する進捗率：50%）
- 販管費は期初予想に沿って進捗（同：49%）

1H決算のブレークダウン（2026年12月期）

コマーシャル事業、プラットフォーム事業は共に黒字化

（百万円）	プラットフォーム*1	（対前年同期比）	コマーシャル*2	（対前年同期比）	連結損益（コア）	（対前年同期比）	ノンコア費用	連結損益（IFRS）	（対前年同期比）
売上収益	8,945	+46%	9,965	+11%	18,910	+25%	合計：4,613	18,910	+25%
売上原価	297	-72%	2,966	+25%	3,263	-5%	A 償却費(894)	3,281	-6%
販管費	2,902	+12%	1,831	-29%	4,733	-8%	B その他(1,344)	6,953	-8%
研究開発費	4,721	-22%	585	-15%	5,306	-22%	B その他(694)	6,000	-20%
その他収益	881	+213	5	+10	886	+223	(1,681)	(795)	-1,458
営業損益	1,906	+4,874	4,588	+1,256 (+38.4%)	コア営業利益 6,494	+6,130		営業利益 1,881	+4,636

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、及びその他事業再編費用

*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 + Nxera Pharma Korea + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社
*3 = 25年11月より実施している事業再構築の効果は、26年後半により顕在化すると見込んでいます

2026年12月期の業績予想の内訳（主な新規提携を含まない）

業績予想ガイダンスに変更なし

（百万円）	プラットフォーム*1	（対前年同期比）	コマーシャル*2	（対前年同期比）	連結損益（コア）	（対前年同期比）	ノンコア費用	連結損益（IFRS）	（対前年同期比）
売上収益	14,300	+40%	19,500	+0%	33,800	+14%	合計：7,100	33,800	+14%
売上原価	1,400	-34%	5,700	-5%	7,100	-13%	A 償却費(1,800)	7,200	-12%
販管費*3	5,700	+15%	3,700	-32%	9,400	-10%	B その他(3,100)	14,200	-7%
研究開発費*3	8,100	-31%	2,400	+78%	10,500	-19%	B その他(1,500)	12,000	-17%
その他収益	1,000	-615	-	+7	1,000	-608	(700)	300	+489
営業損益	100	+6,999	7,700	+18%	コア営業利益 7,800	+8,152		営業利益 700	+9,162

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 + Nxera Pharma Korea + ネクセラファーマ株式会社のスイス支社
*3 = 25年11月より実施している事業再構築の効果は、26年後半により顕在化すると見込んでいます

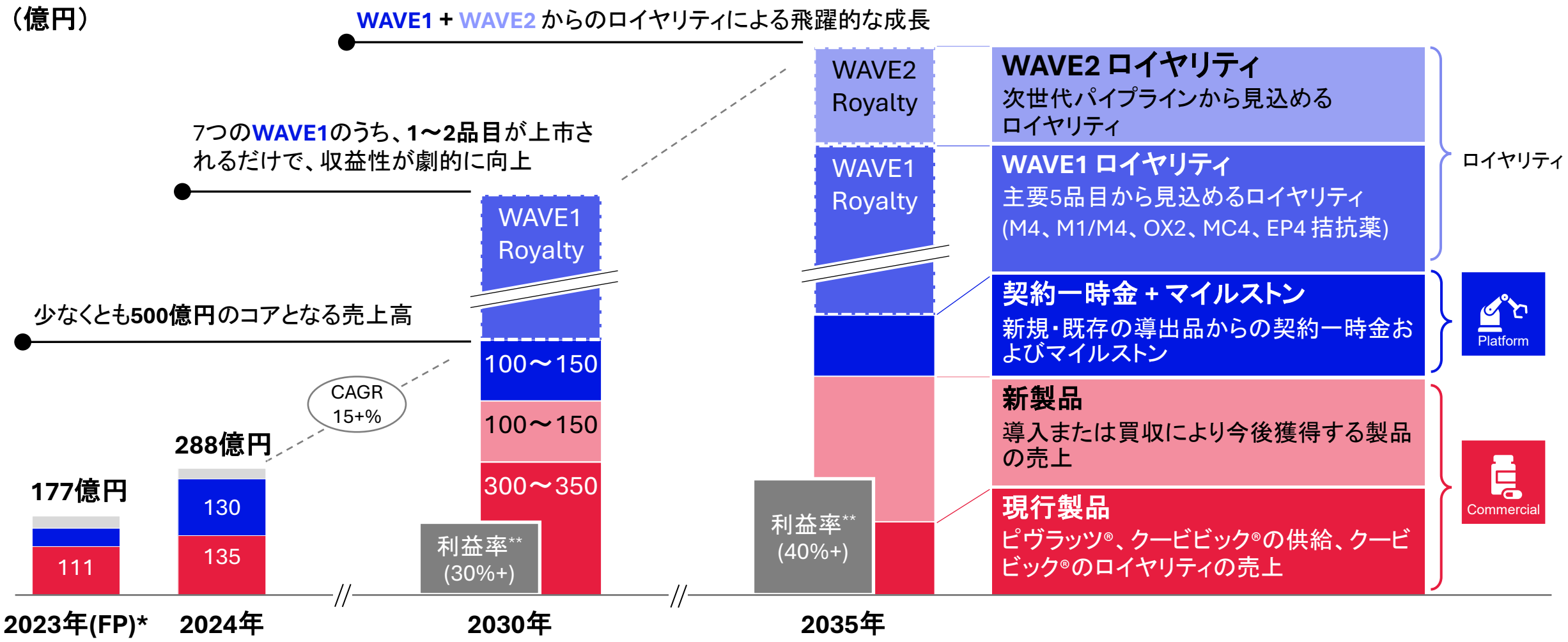
2026年のイベントカレンダー*

✓ : 達成済

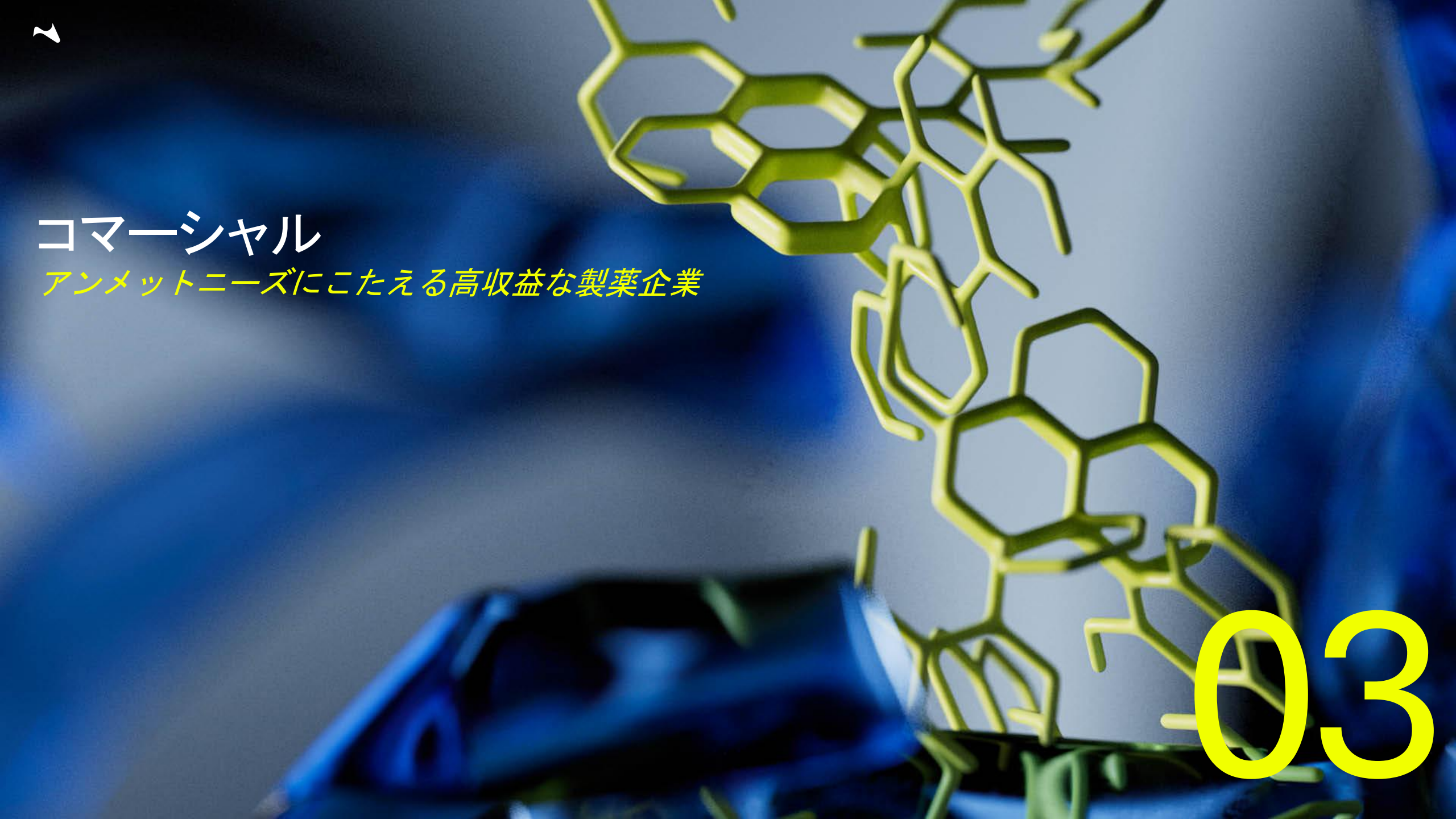
開発プログラム	提携先	時期	イベント
✓ ORX142 (OX2作動薬)	Lilly	2026年2月	フェーズ2試験開始
✓ ORX489 (OX2作動薬)	Lilly	2026年3月	フェーズ1試験開始
✓ NBI'570 (M1/M4作動薬)	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年4月	フェーズ2試験開始
✓ 複数の創薬コラボレーション	abbvie Lilly	2026年上期	創薬段階における開発の進捗（2026年累計3件）
ORX750 (OX2作動薬)	Lilly	2026年	フェーズ2a試験データ取得（NT1/NT2/IH）
ORX750 (OX2作動薬)	Lilly	2026年	Registrational試験開始（NT1/NT2/IH）
Cenerimod	VIATRIS	2026年Q4	フェーズ3データ取得
NBI'569 (M1/M4作動薬) / NBI'567 (M1作動薬)	NEUROCRINE BIOSCIENCES	2026年下期	臨床開発における進捗
NBI'567 (M1作動薬) / NBI'569 (M1/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・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®/ Vamorolone		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

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



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



コマーシャル

アンメットニーズにこたえる高収益な製薬企業

03

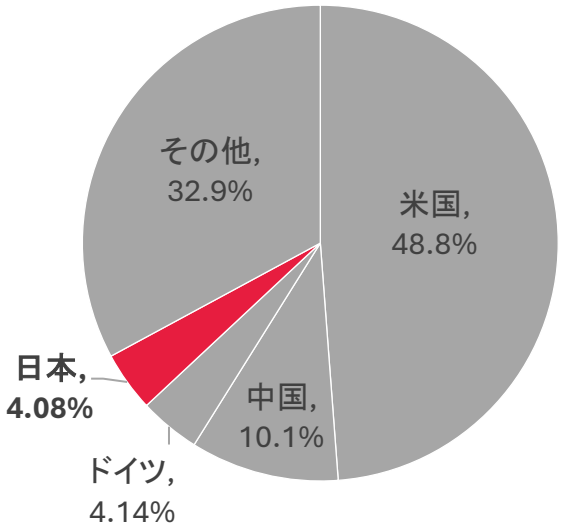
Commercial

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)

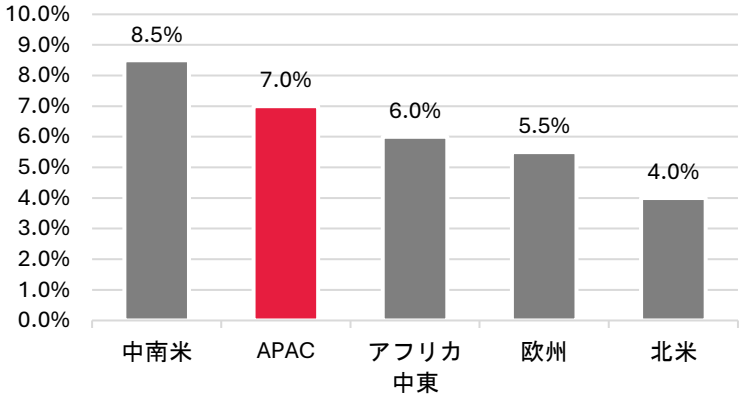


有利な日本市場環境

- ✓ 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

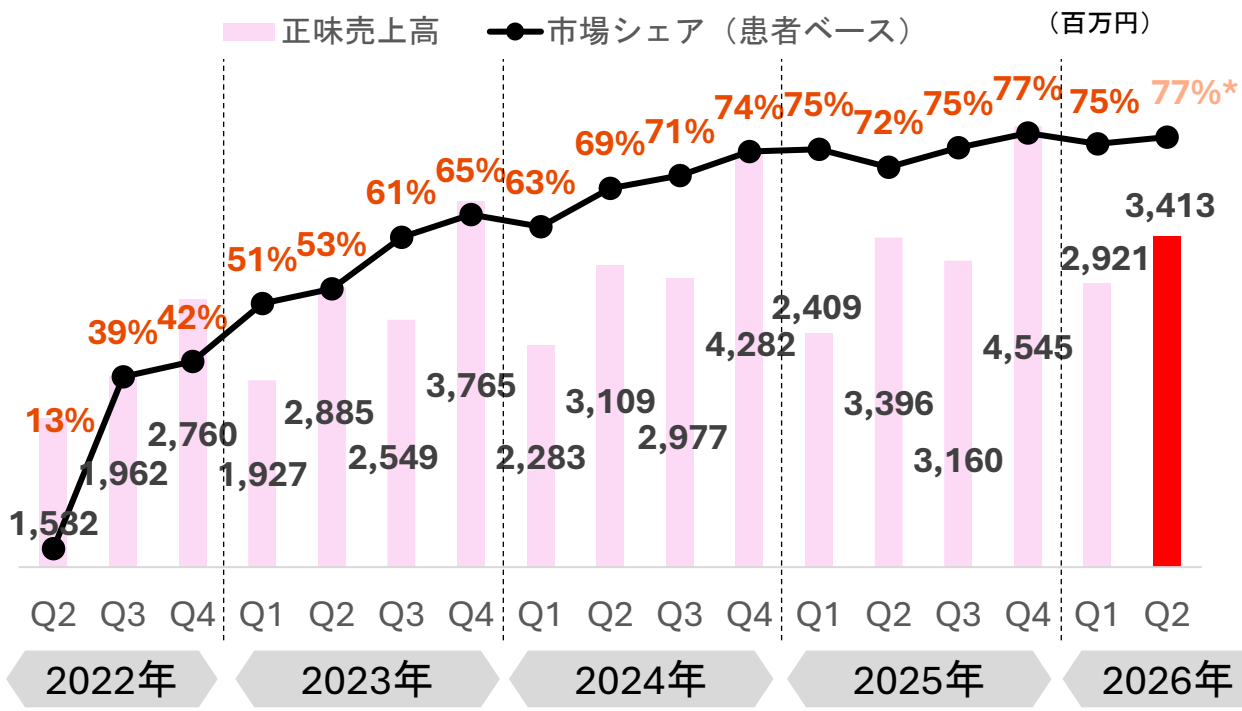
ピヴラッツ®（クラゾセンタン/エンドセリンA拮抗薬）

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

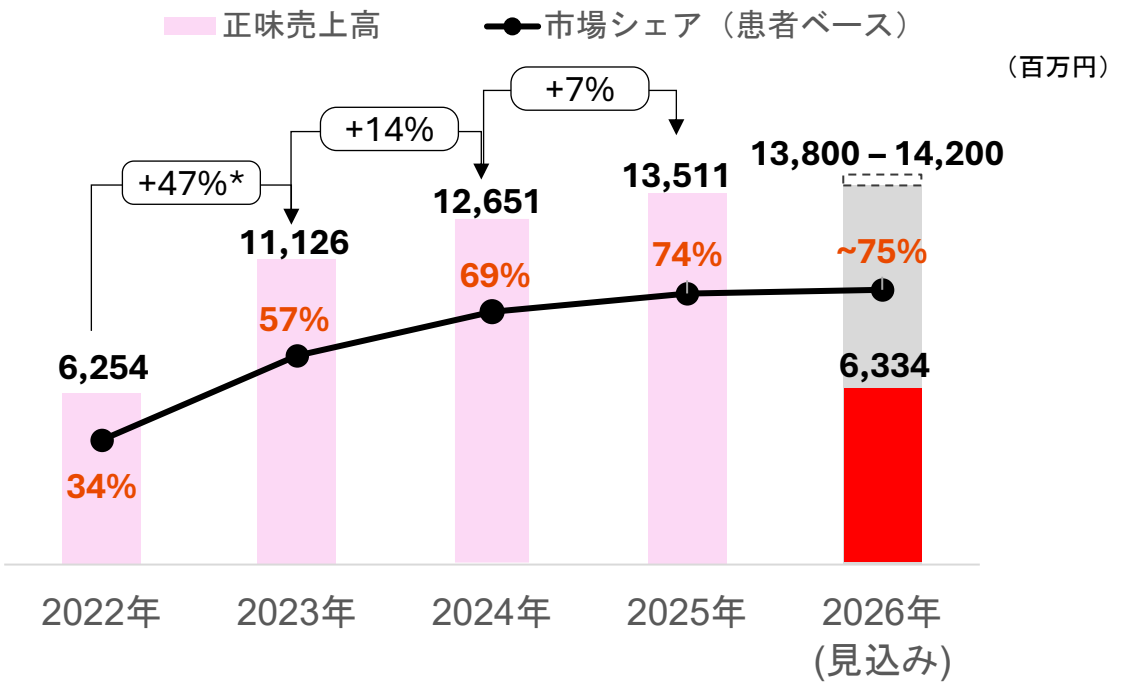
エンドセリン受容体拮抗薬 ピヴラッツ® 点滴静注液 150mg 薬価基準収載

Commercial

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
* 推計値

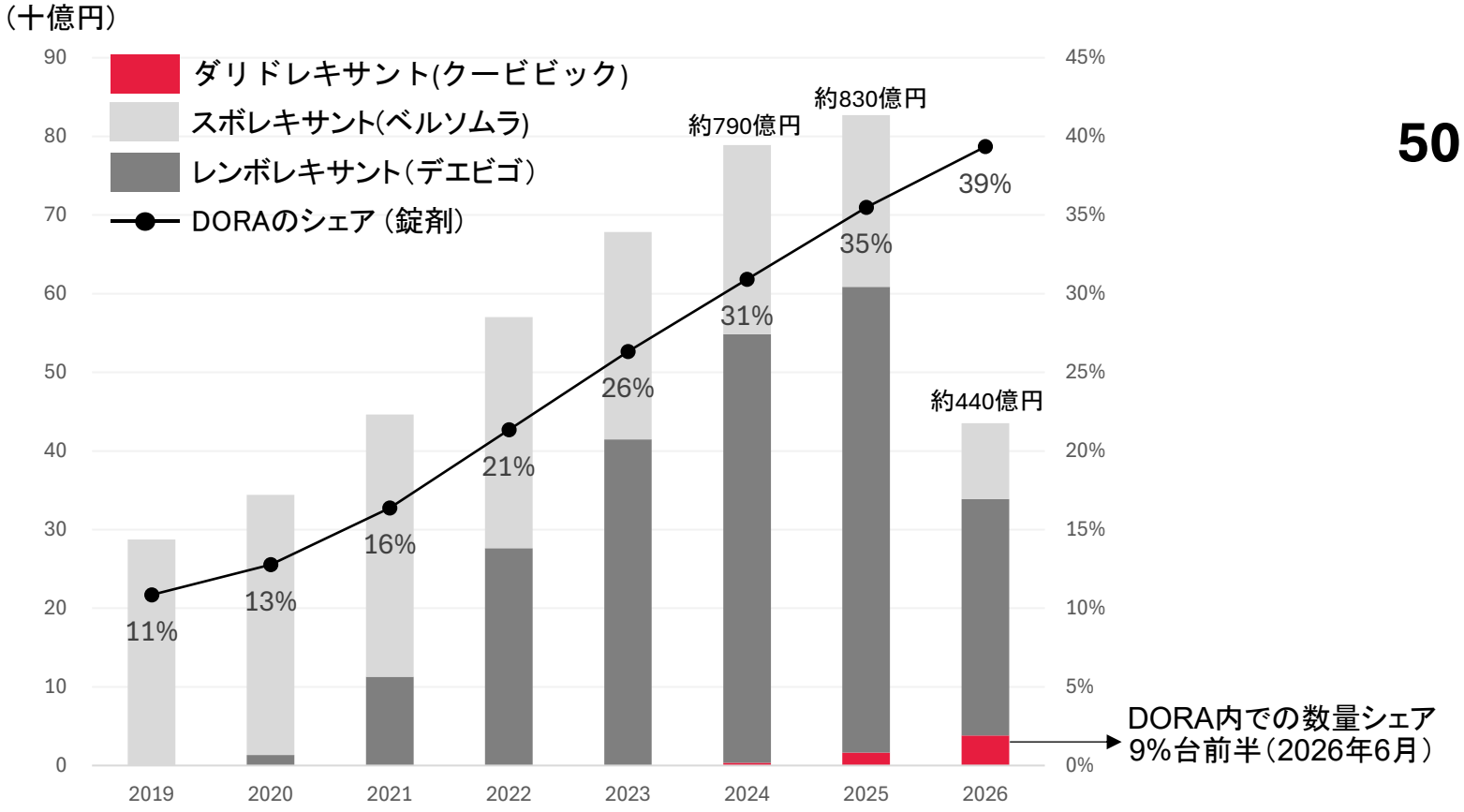
クービビック®*：新規のデュアルオレキシン受容体拮抗薬（DORA）

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

Commercial

DORAは不眠症治療薬において、急速に地位を確立している

DORAの国内市場規模

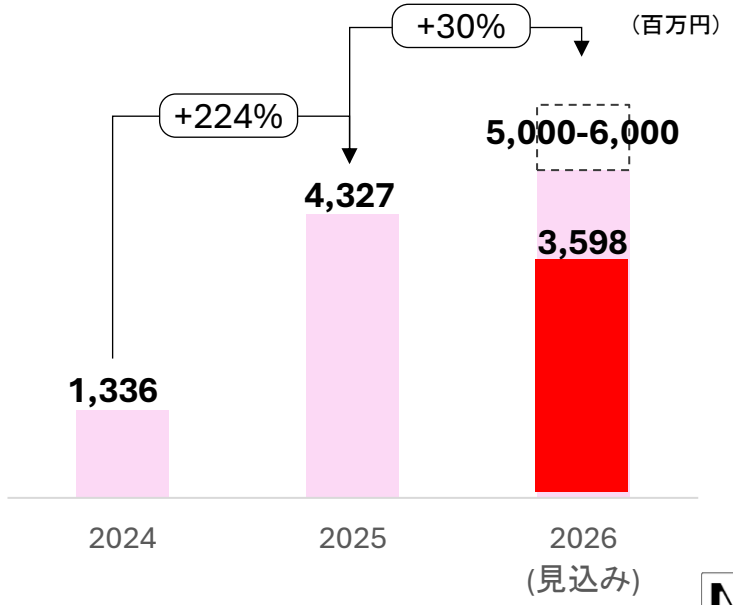


出所：各社決算説明会資料より当社作成

クービビック®の年間売上と成長率

50 – 60 億円

+30%

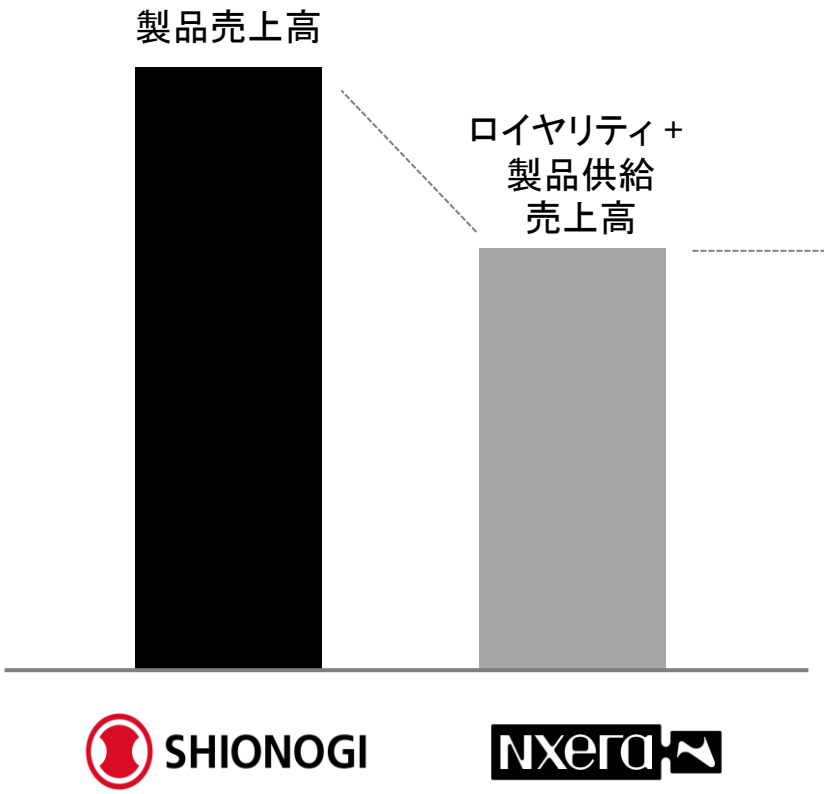


クービビック®の売上・利益構造のイメージ

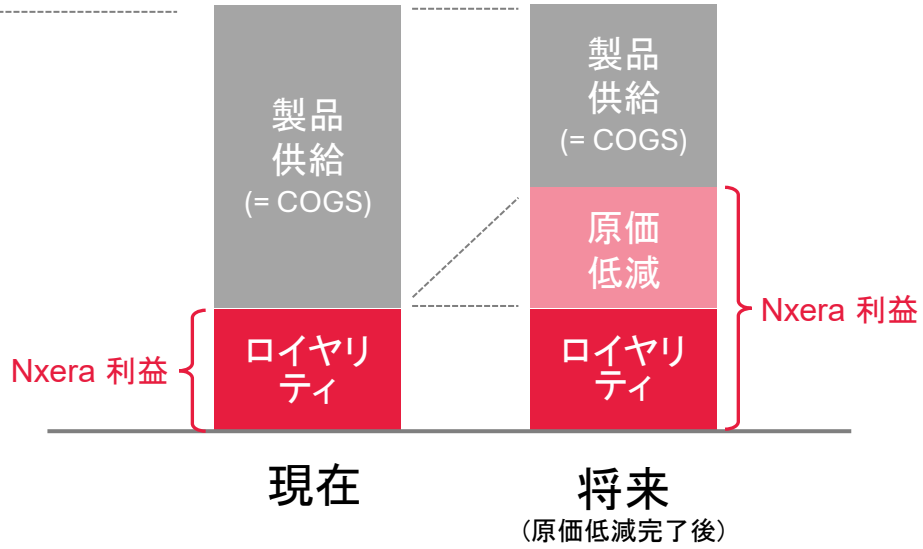
利益は当面はロイヤリティ収入によるが、将来は原価低減効果による利益増大が寄与

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

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
- ✓ 2025年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

Commercial

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

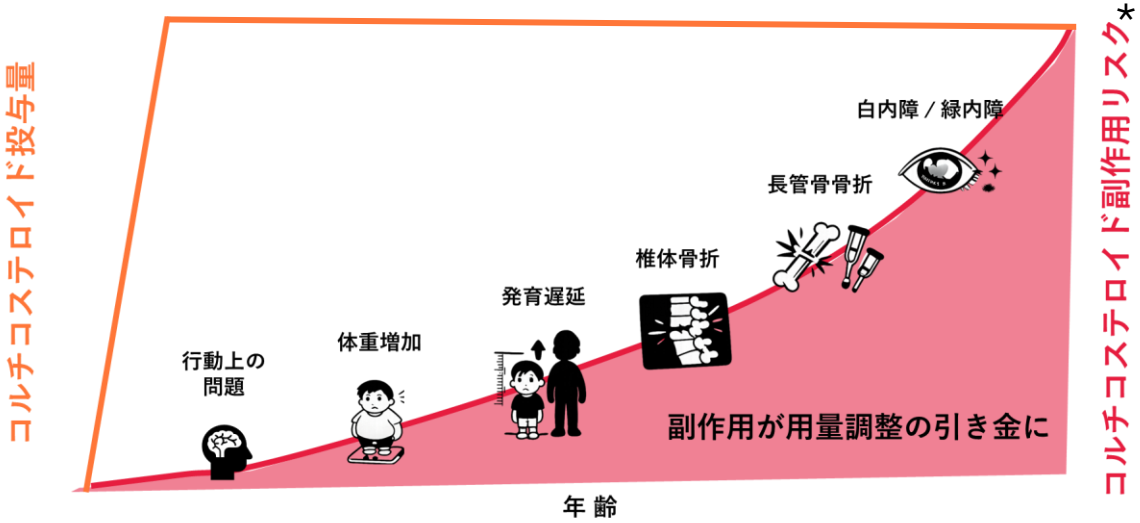
日本において、DMDに対する確立した治療はコルチコステロイド以外に存在しない

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



出所: Cowen L, et al. BMC Neurol. 2019;19:84; 2. Wong B, et al. J Pediatr. 2017;182:296–303; 3. Bello L, et al. Neurology. 2015;85:1048–55; 4. Guglieri M, et al. JAMA. 2022;327(15):1456–68; 5. Weber DR, et al. Pediatr. 2018;142(Suppl 2):S43–52; 6. Zhang T, Kong X. Exp Ther Med. 2021;21(5):447; 7. Osorio AN, et al. Neurología. 2019;34(7):469–81. 8. Rice ML, et al. J AAPOS. 2018;22:192–6; 2. Angelini C. Muscle Nerve. 2007;36:424–35. 9. Ward LM, et al. Pediatrics. 2018;142:S34–42; 10. Ward LM. Front Endocrinol (Lausanne). 2020;11:576.

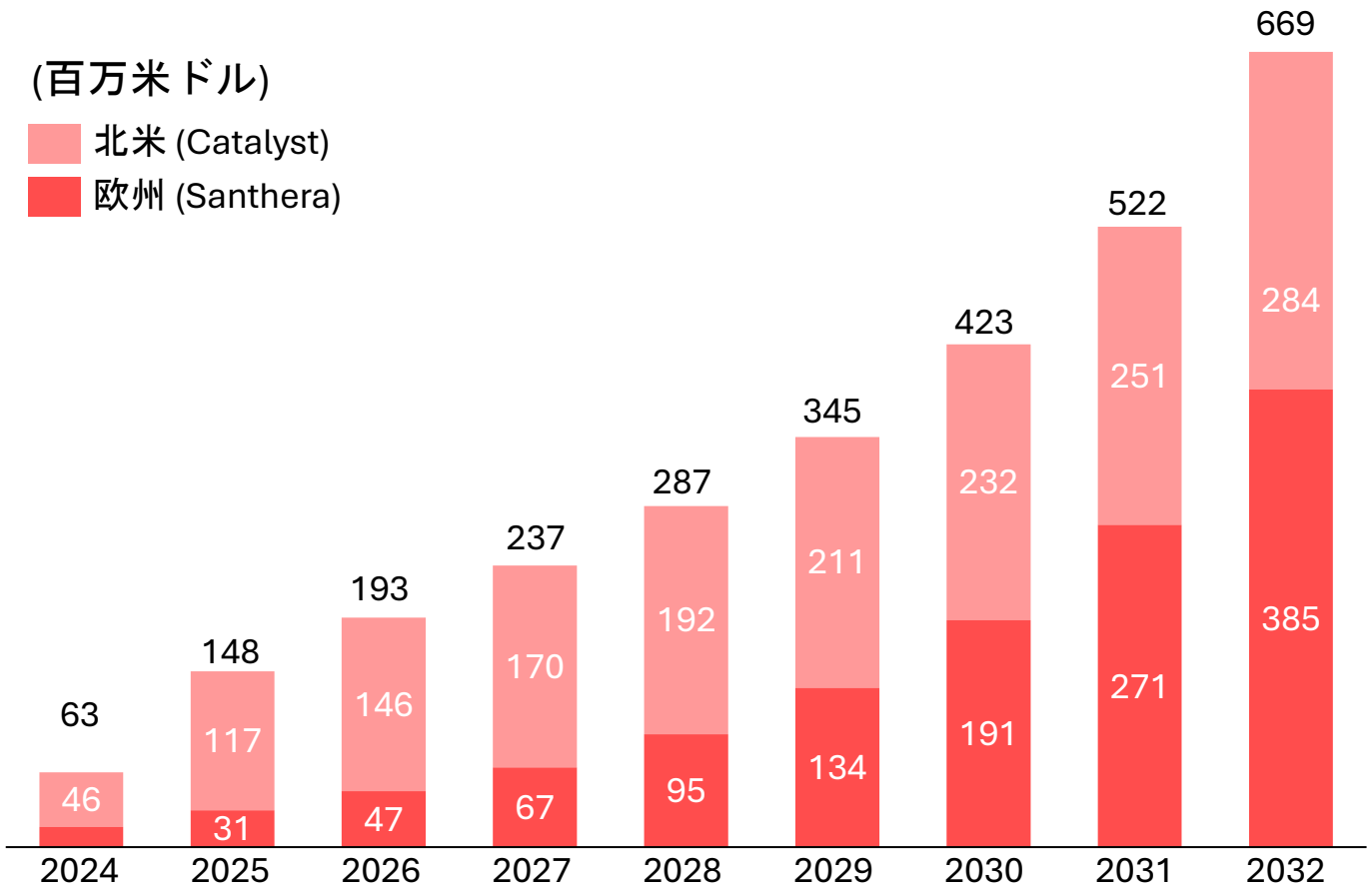
Commercial

vamorolone (AGAMREE®) は忍容性が高い、次世代のステロイド

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）（5年後の平均身長差が +12.17 cm)**
  - **骨の健康 – 椎体骨折率の低下（p=0.0061）（vamorolone 8.1% vs deflazacort 41.9%）**
  - **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（vamorolone 5.3% vs deflazacort 37.8%）**
- 副作用低減により、患者さんが**治療継続**しやすい

欧米でのvamoroloneの売上予測のコンセンサス



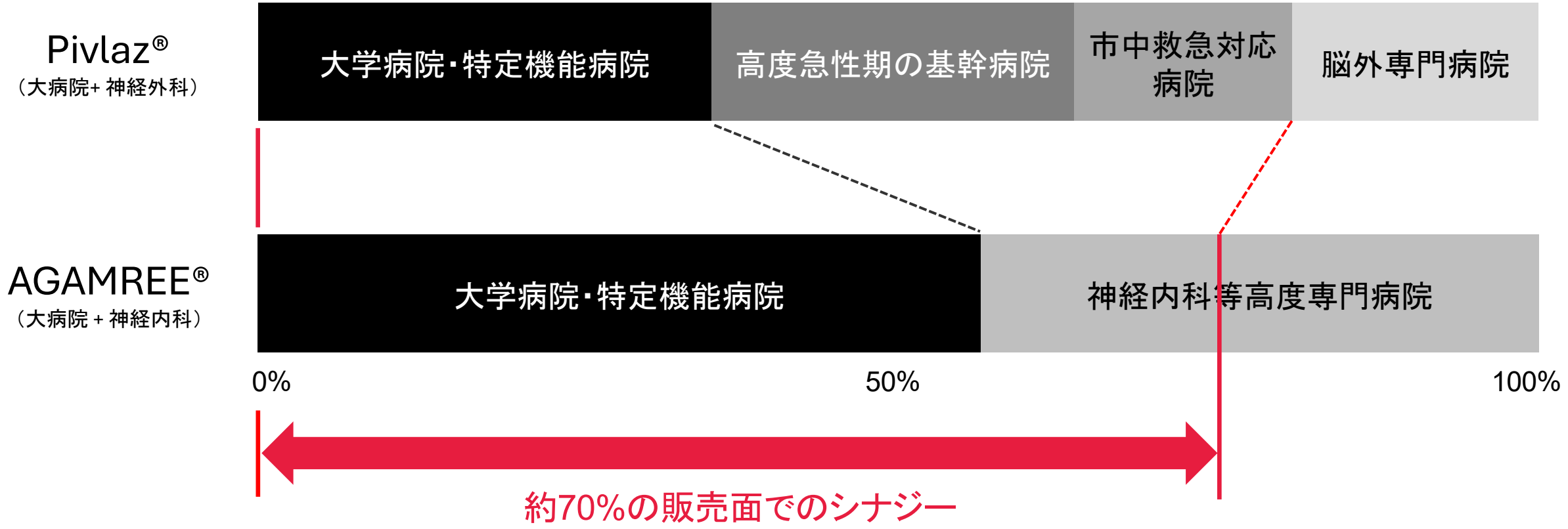
*出所：Evaluate Pharma, June 2026

Commercial

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



創薬プラットフォーム

世界トップのイノベーションを持つ創薬企業

04

他社との差別化が可能で、事業価値も大きい領域にR&Dを集中

Platform

自社ポートフォリオ：研究開発の重点化とプログラムの優先順位付け

探索	フェーズ2試験準備完了		フェーズ2試験中
創薬候補	**NXE’149** GPR52作動薬	**NXE’744** EP4作動薬	**NXE’732** EP4拮抗薬
肥満・代謝性疾患	統合失調症	炎症性腸疾患	進行性固形がん
✓ 患者への効果が最も大きい可能性のあるターゲット	✓ P1試験完了 ✓ P2試験準備完了	✓ P1試験完了 ✓ 標的エンゲージメント ✓ P2試験準備完了	✓ PoC（proof-of-concept）を確認 ✓ CRUKが臨床試験を主導

競合（複数社）でのライセンス交渉が進行中

R&Dは最もポテンシャルの高い領域に注力

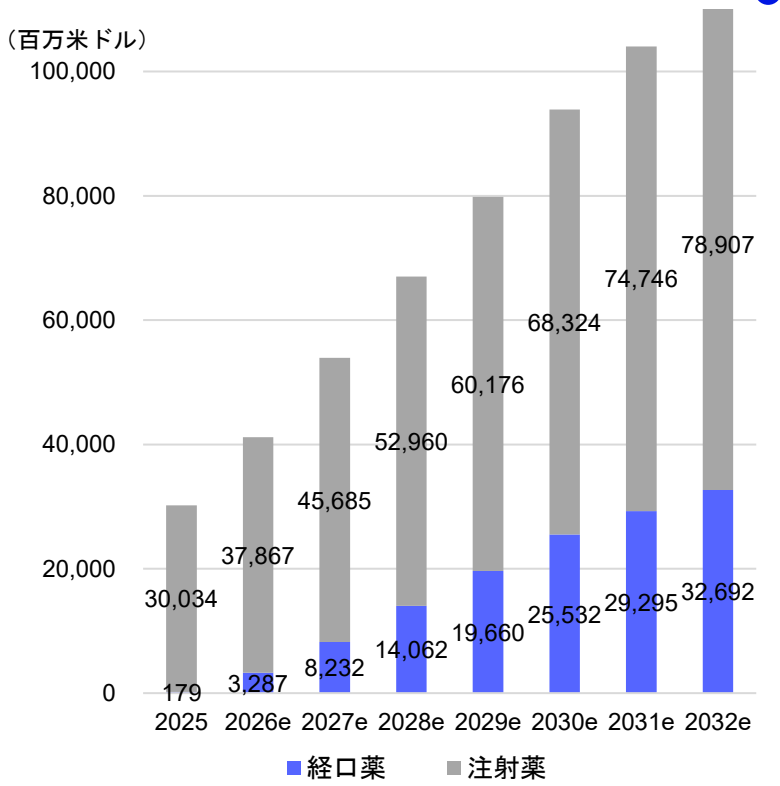
Platform

肥満・代謝性疾患・内分泌疾患に対する次世代治療薬開発

注射薬が主戦場の肥満症領域において、経口化・新規結合様式で差別化

肥満症における市場規模と当社の開発プログラム

メカニズム	対象疾患	市場規模
GLP-1 ag	肥満 代謝性疾患	21兆円
GIP ant		1.5兆円
GIP ag		6兆円
Amylin ag		3兆円
TSHR NAM	甲状腺眼症	0.8兆円
PTH ago	副甲状腺機能低下症	0.7兆円



差別化戦略と開発スケジュール

- 最大限の体重減少を追求する段階から、独自の**有効性、忍容性、減量の質、治療アクセス、併存疾患に対する持続的な効果**を備えた低分子開発に注力
- GLP-1作動薬およびアミリン作動薬について、**差別化された化学骨格を創製**、開発を推進
- 2027年に4件のIND申請準備試験を計画、**2028年には複数の臨床試験**を開始予定

強力で忍容性に優れた経口低分子により、肥満症、体重管理および関連する併存疾患の治療を再定義し、世界規模の重大な医療ニーズに応える

Platform

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

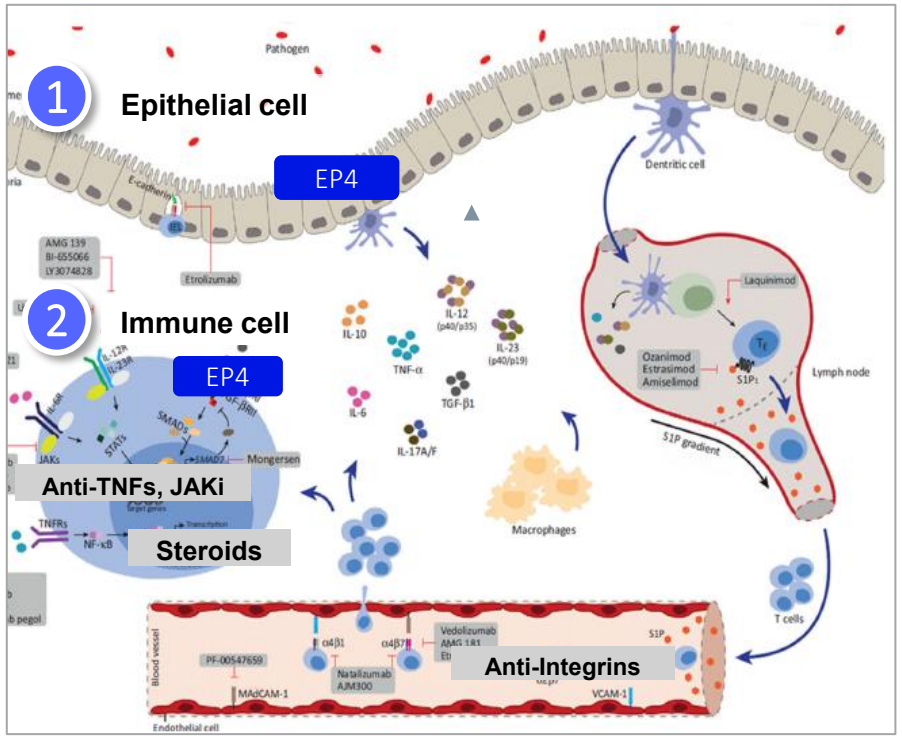
IBD患者の消化管内の粘膜治癒を促進するファーストインクラスの開発品

- EP4作動薬は、標準療法に対し差別化された作用機序を提供
  - ➢ バリア恒常性および炎症調節により、IBD 治療における魅力的なMOA と位置づけられる

腸管腔 | 粘膜 | 全身（循環）

腸管腔内に限定 → 腸管粘膜を標的 → 全身に吸収

現在の IBD 治療 (SOC)



Adapted from (Weisshof et al 2018)

- 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）
  - ➢ **インドメタシン負荷試験コホート1は完了**、中間解析も完了。被験者の追加は不要。最終データ読み出しは 2026年3月
  - ➢ 予備データ解析では、NXE’744 投与群で インドメタシン誘発透過性が**約50%有意に低下**。これらのデータは 小腸での**標的受容体の活性化（エンゲージメント）**を裏付ける

臨床試験リンク:
https://www.isrctn.com/ISRCTN70080074?q=nxera&filters=&sort=&offset=1&totalResults=2&page=1&pageSize=10

NXERA

Platform

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

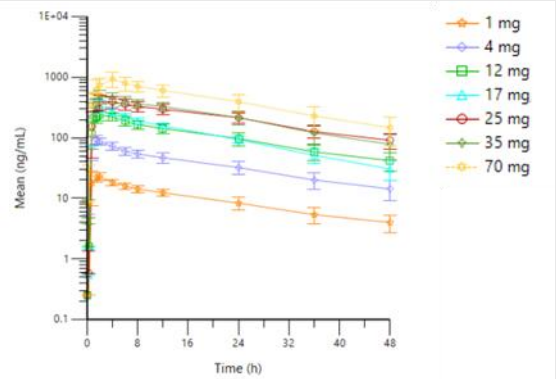
フェーズ1試験のハイライト:

- ✓ 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

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

CANCER RESEARCH UK

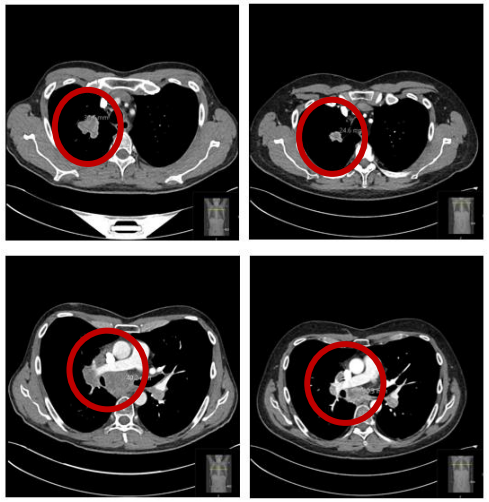
Platform

疾患メカニズムとの関連

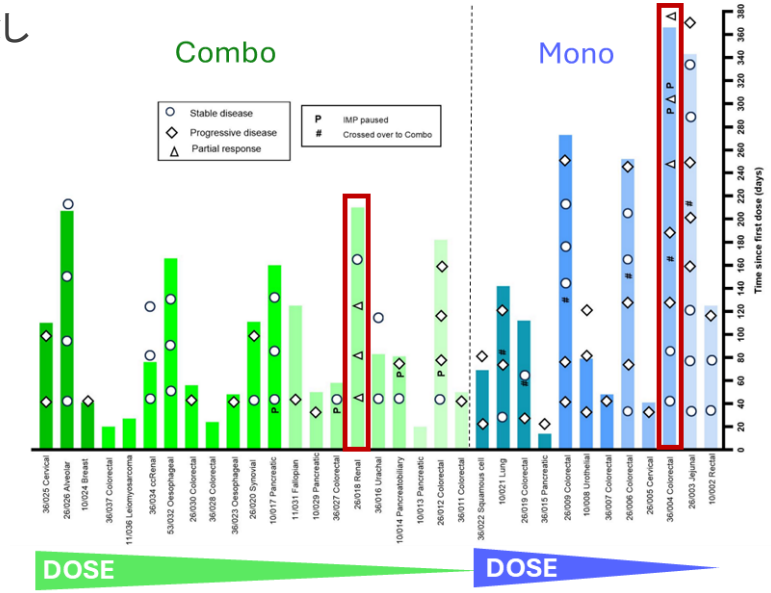
- EP4が活性化すると、免疫反応を抑え、腫瘍の増殖を促進する
- EP4拮抗は有望 – 胃がんでのONO-4578 最新臨床データにより支持
- NXE-732は**高い力価・選択性・安全性**の実現を目指して設計

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）

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

NXERA

Platform

… これまでに数百億円を受領。さらに今後も数千億円の収益が得られる可能性

開発進捗が特にアクティブなパートナー

パートナー	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]
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	7億ドル
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

開発進捗が完了または終了したパートナー

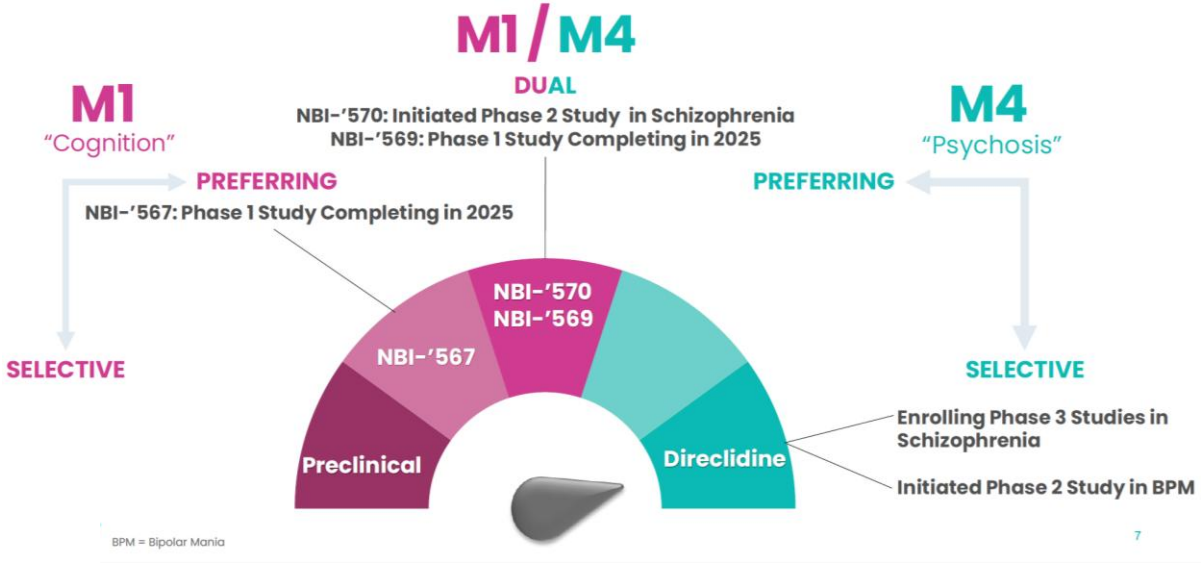
パートナー	提携時期	プログラム	疾患領域	契約一時金 初期マイルストン	マイルストン総額 （最大）[1]
Boehringer Ingelheim	2024年3月	GPR52作動薬のライセンスオプションを 含む契約	統合失調症	25百万ユーロ	6.7億ユーロ
GSK	2020年12月	GPR35作動薬のライセンス契約 と研究開発提携	消化器疾患/免疫疾患	44百万ドル	4.8億ドル
biohaven pharmaceuticals	2020年12月	CGRP拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携	神経疾患	10百万ドル	3.8億ドル
abbvie	2020年6月	ライセンスオプションを 含む創薬提携[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。

Neurocrine社は広範なムスカリン作動薬ポートフォリオを開発中

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Platform



プログラム	ターゲット	適応症	開発段階
Direclidine	M4作動薬	統合失調症	フェーズ3
		双極性障害	フェーズ2
NBI-'570	M1/M4 作動薬	統合失調症/LAI*の可能性	フェーズ 2
NBI-'569	M1/M4 作動薬	アルツハイマー病に伴う精神疾患	フェーズ1b開始へ
NBI-'567	M1 Preferring 作動薬	アルツハイマー型認知症	フェーズ1
		レビー小体型認知症	

NxWave™によって設計された、M1、M4、およびM1/M4デュアル機序にわたる5つの臨床段階プログラム

注：*Long-Acting Injection
出所: ニューロクライン社 – 2025年12月16日 R&D Day 2025 資料

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Platform

ムスカリンプログラムの開発状況

先行薬Cobenfyに続く形でベスト・イン・クラスを狙った当社製品NBI’568がP3試験進行中

Article

Selective Muscarinic Receptor Agonist Xanomeline as a Novel Treatment Approach for Schizophrenia

統合失調症におけるザノメリンの有益性に関する初の臨床的証拠。小規模臨床試験（N=10）、PANSSおよびBPRSの臨床的エンドポイントに有意な効果

Shekar et al Am J Psychiatry 2008; 165:1033–1039

KARUNA THERAPEUTICS

統合失調症に対する第Ⅱ相試験でKarXTが良好な結果

cerevel

M4 PAM（Emraclidine）が第Ⅰb相試験で良好な結果

KARUNA THERAPEUTICS

統合失調症に対する第Ⅲ相試験でKarXTが良好な結果

Bristol Myers Squibb™ KARUNA THERAPEUTICS

COBENFY™ が2024年9月26日にFDA承認取得

2008

ヘプタレス社がM4作動薬のプロジェクトを開始

2012

NXE0016878（NBI-568）の第Ⅰ相FTIH試験（NCT03244228）臨床試験に進んだ最初の選択的M4作動薬

Allergan

Nxera

2017

当社グループとニューロクライン社がM1、M4、M1/M4作動薬の開発に関して提携契約を締結

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Nxera

2019

2021

NBI-568の第Ⅱ相試験について良好なトップラインデータを発表（NCT05545111）

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Nxera

2022

2024

2025

NBI-568の第Ⅲ相試験開始

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Nxera

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

Nxera

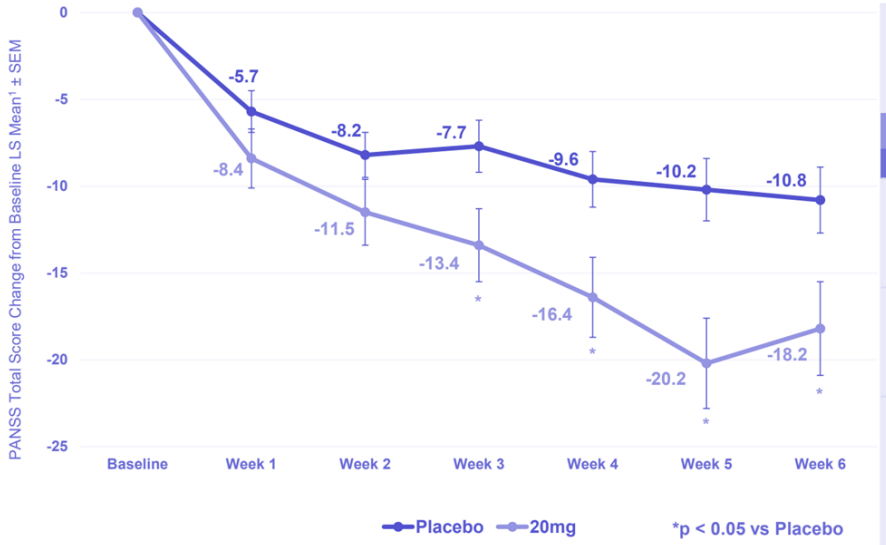
M4作動薬のフェーズ2試験トップライン結果

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

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Platform

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

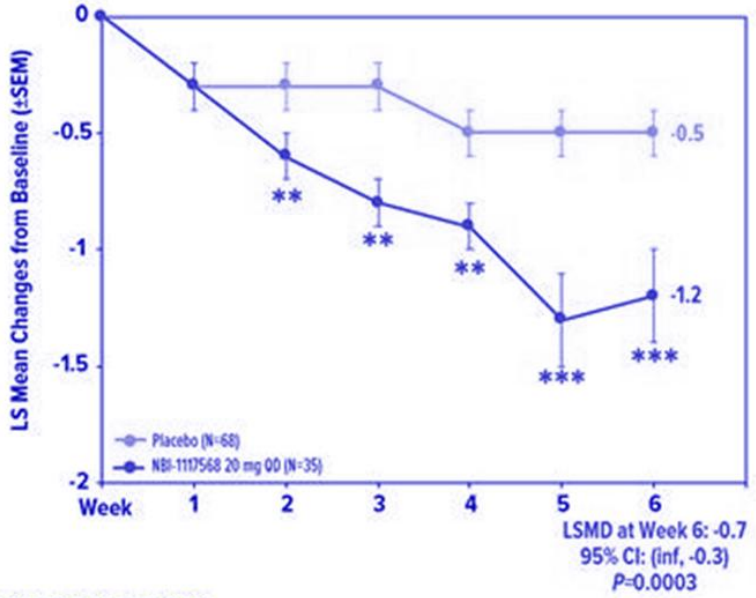
** Primary Endpoint = Week 6

NEUROCRINE BIOSCIENCES

[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"

出所：Neurocrine社プレゼン2024/8/28

NXERA

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Platform

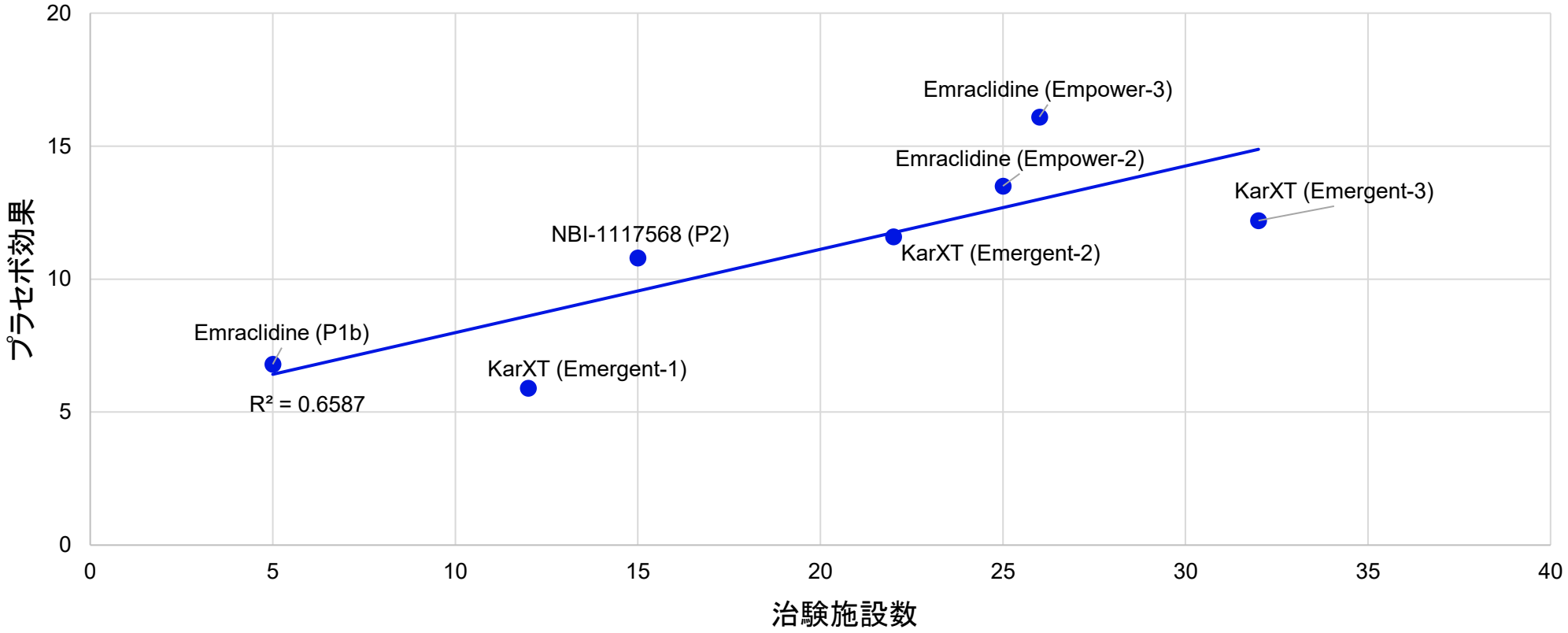
競合薬との施設数・試験機関の比較

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。”

出所：Neurocrine社プレゼン2024/8/28

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

NEUROCRINE BIOSCIENCES

Platform

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 trials[20]

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		
NBI-568	★ 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
Cobenfy	★ 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）

出所：Neurocrine社プレゼン2024/8/28、KarXT for Schizophrenia draft evidence report Nov. 28, 2023 (https://icer.org/wp-content/uploads/2023/07/ICER_Schizophrenia_Draft_Report_For-Publication_112823.pdf)

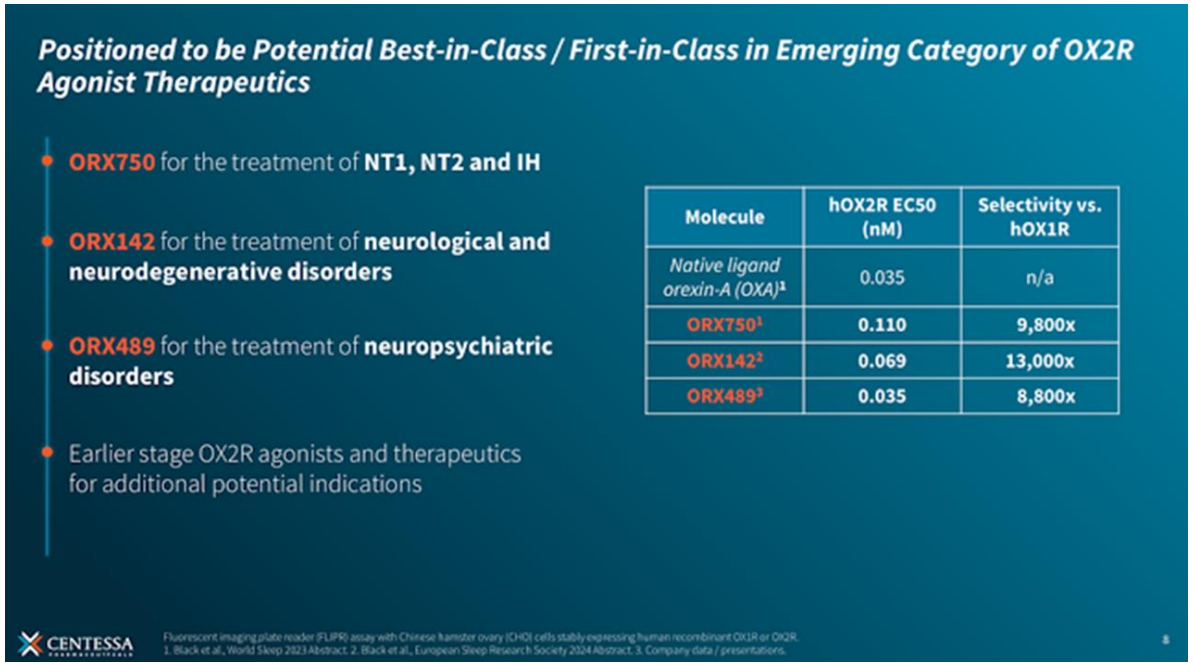
OX2受容体作動薬シリーズ

CentessaがEli Lillyと最大78億米ドル規模の買収契約合意

CENTESSA PHARMACEUTICALS

Platform

Centessaのパイプライン（ORX750/ORX142/ORX489）



CentessaとEli Lillyの買収合意内容

項目	内容
買収発表日	2026年3月31日
買収者	Eli Lilly and Company
対価の基本構造	1株当たり現金38.00ドル＋譲渡不可のCVR 1個
買収金額	最大47.00ドル/株（最大78億米ドル）
CVR総額	最大 9.00ドル/株（最大15億米ドル） CVRマイルストーン①:2.00ドル/CVR ORX750またはORX142が、取引完了から5年以内にNT2でFDA承認 CVRマイルストーン②:5.00ドル/CVR ORX750またはORX142が、取引完了から5年以内にIHでFDA承認 CVRマイルストーン③:2.00ドル/CVR ORX750またはORX142が、2030年1月1日以前に他の適応症でFDA承認
プレミアム	2026年3月30日終了時点の30日VWAPに対して約40.5%プレミアム
クロージング	2026年第3四半期予定

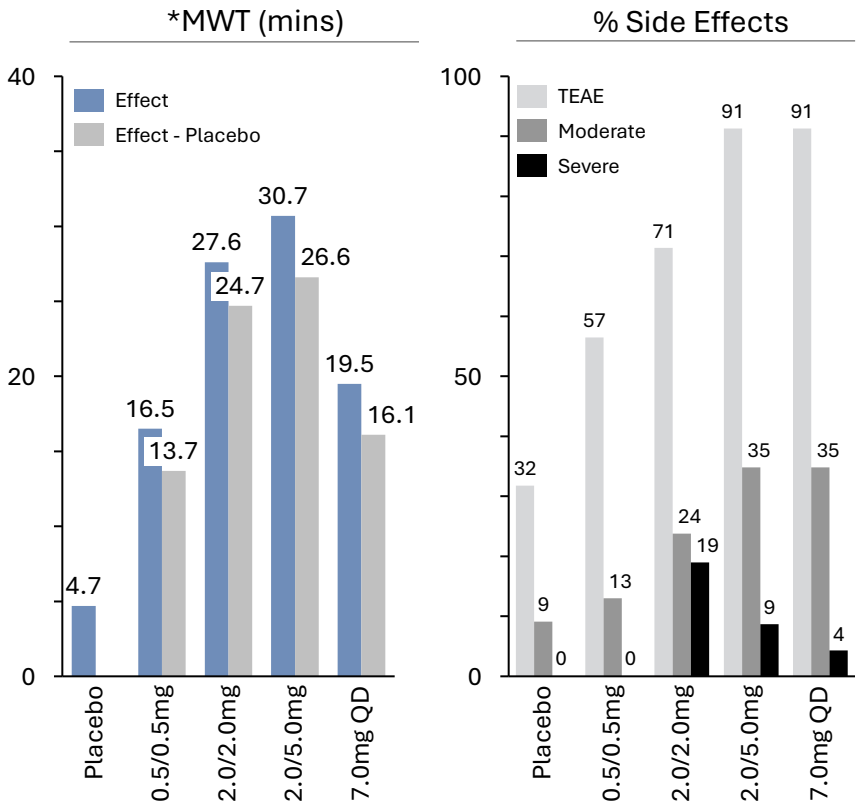
初期フェーズ2a試験の速報データにより、3つの適応症でベストインクラスとなり得るプロファイルを確認
Centessaは2026年3月31日にEli Lillyとの買収合意（最大78億米ドル）を発表

出所: Centessa社のコーポレートプレゼンテーション（2025年11月）

OX2作動薬の競合データ整理

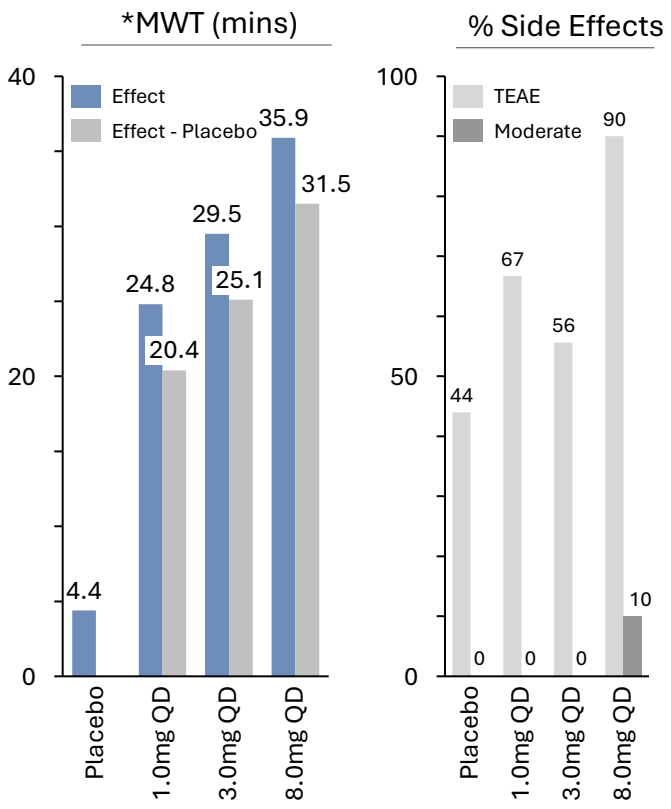
ORX750は安全性・有効性ともに良好な結果をP1b試験結果で報告

TAK-861



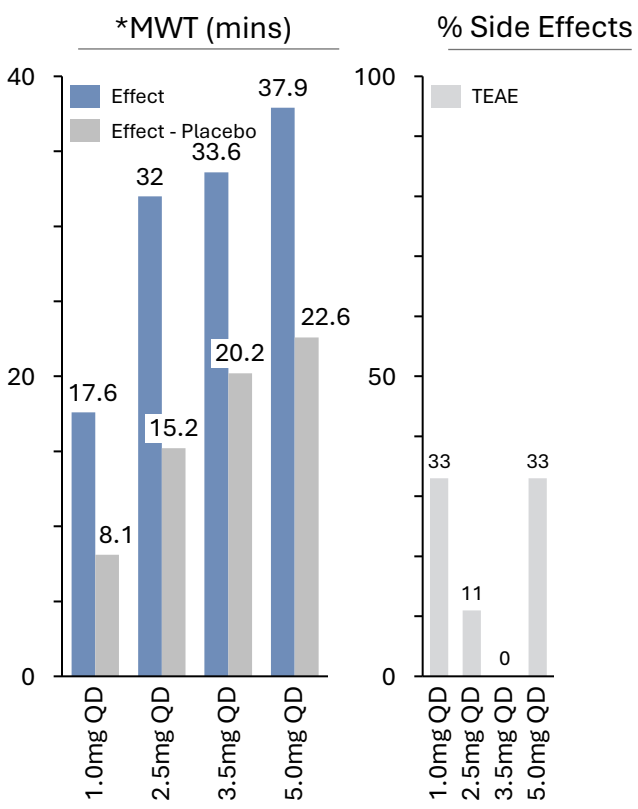
- **Ph2b NT1 patients**
- n=112 (Week8)

ALKS2680



- **Ph1b NT1 patients**
- n=34

ORX750



- **Ph1b healthy volunteers**
- n=10

出所:N Engl J Med 2025;392:1905-1916, Alkermes社コーポレートプレゼンテーション資料、Centessa社コーポレートプレゼンテーション資料より当社作成
注:TAK-861はNT1患者対象のP2b試験結果、ALKS-2680はNT1患者対象のP1試験結果、ORX750は健常人対象のP1試験結果から作成

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

Platform

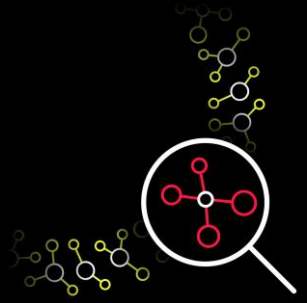
NxWave™プラットフォーム

標的の同定とバリデーション

最適な標的の同定

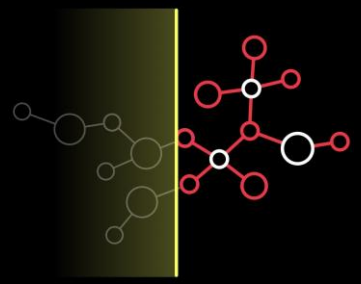
NxStaR™

適切な標的の安定化



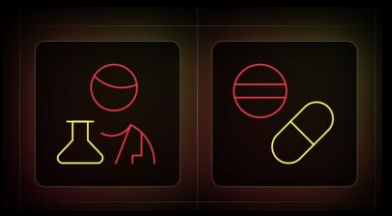
NxHit™

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

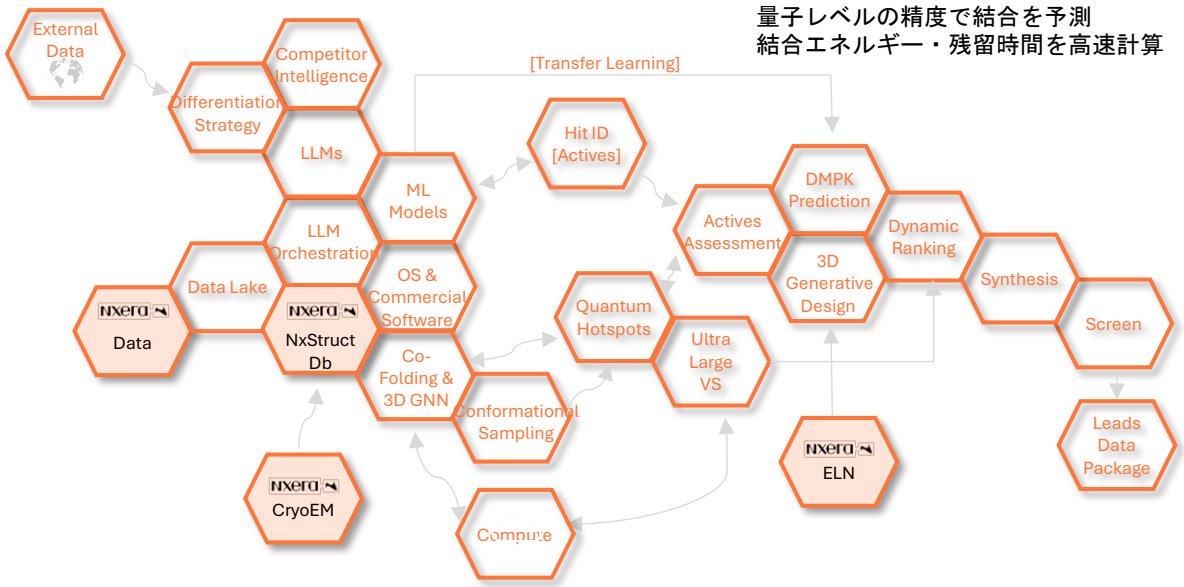
	臨床開発候補品	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
合計	29	18	5	1
アクティブ（2025年8月時点）	✓ 15	✓ 11	✓ 4	✓ 1

nxera

AI＋Q 創薬プラットフォーム

AI創薬時代において、15年にわたり蓄積した独自データが大きな優位性となる

AI＋Q 創薬プラットフォーム



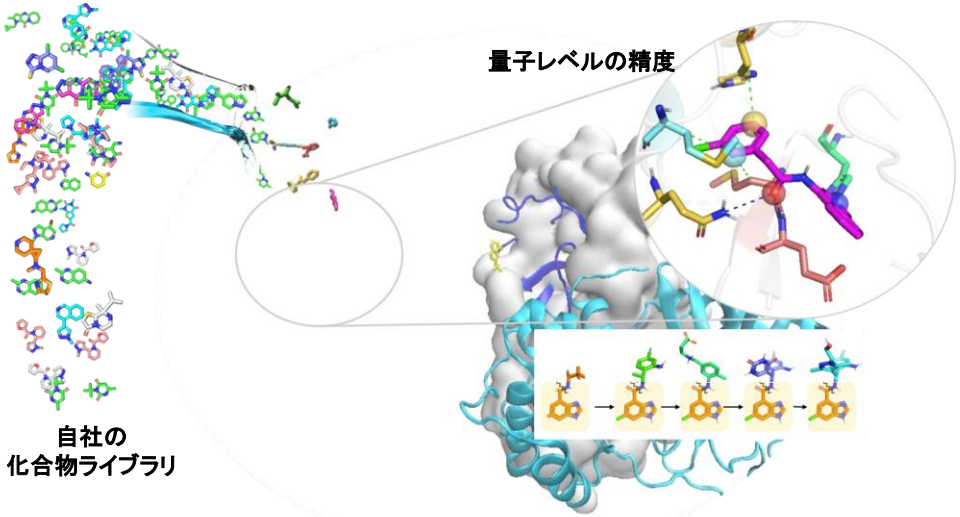
Google
DeepMind
Isomorphic Labs
ANTHROP\C
OpenAI
Meta

独自データ基盤

493	59	400+	30,000	100+
GPCR 構造	受容体	重複のない低分子	変異データポイント	プロジェクト

開発ロードマップと体制

- β版を開発中、2026年後半の稼働を見込む
- 500万米ドルをロンドン拠点へ投資
- 世界トップクラスのAI企業群と並ぶ布陣



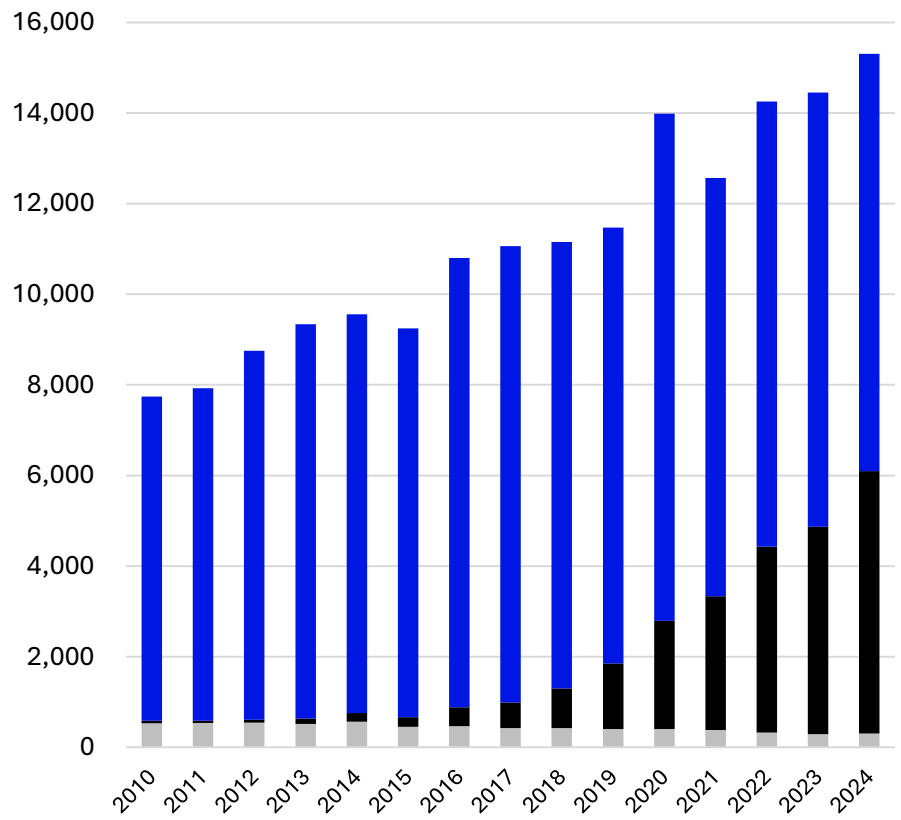
当社のAI＋Qプラットフォームは、ネクセラを「製薬企業」から「テクノロジー企業」へと変革する

Platform

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



X-ray

Nxera

Cryo-EM

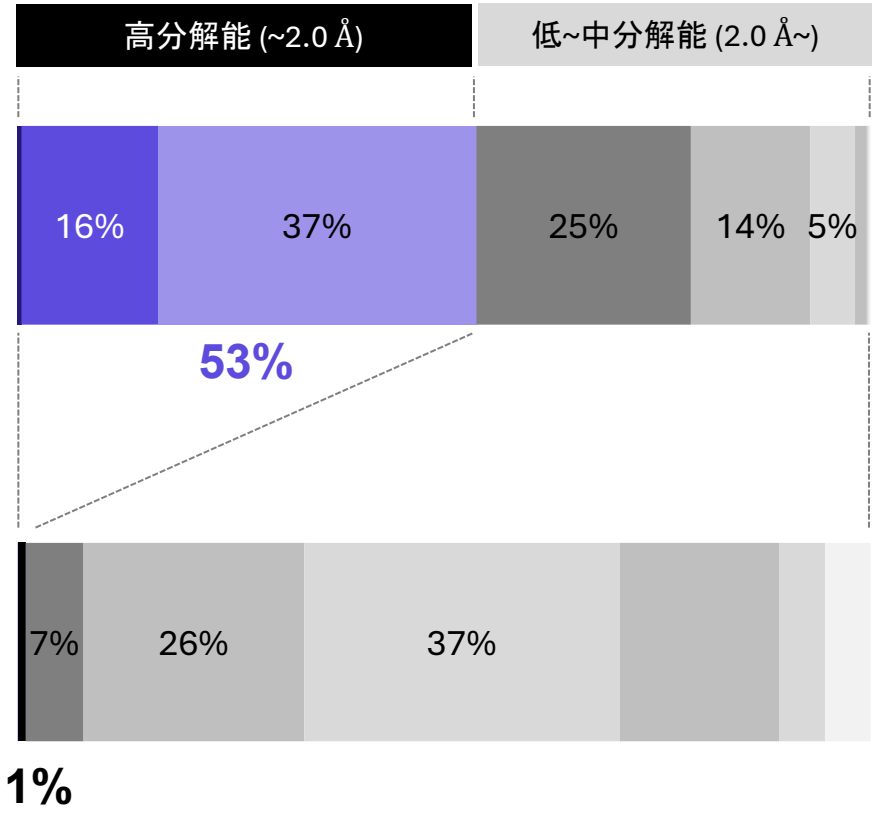
Nxera

septerna

TECTONIC Therapeutic

STRUCTURE THERAPEUTICS

技術別の分解能



出所：Protein Databankより当社作成

Nxera

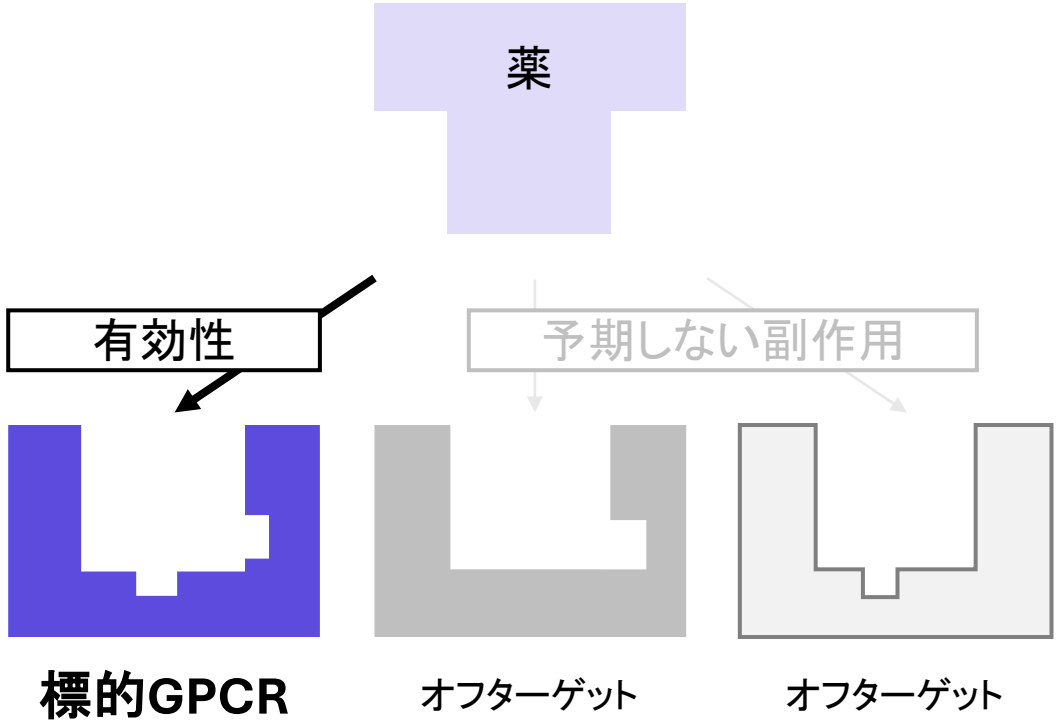
Platform

当社技術：精密なGPCRモデルにより優れた創薬が可能

精密な構造解析によって、優れた医薬品デザインが可能となる

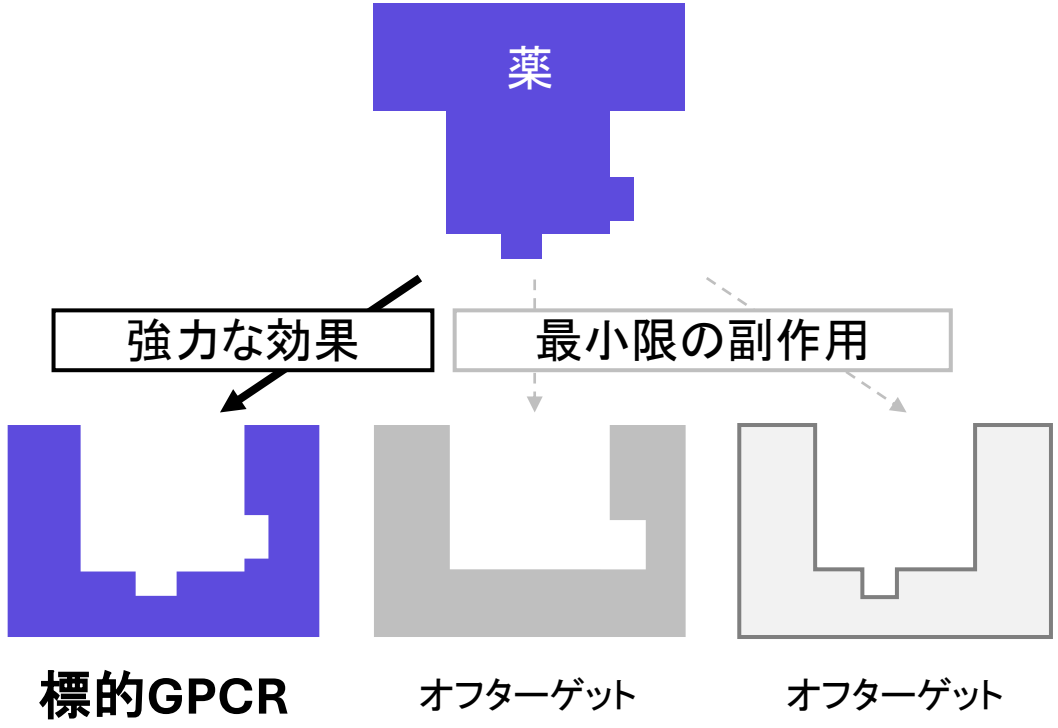
不鮮明なGPCRモデル：一般的な薬

GPCR（鍵穴）に対する理解が不十分だと医薬品（鍵）も最適化できない



精密なGPCRモデル：優れた薬

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



補足資料

05

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							
（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	モノクロナール抗体	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 target	低分子/生物製剤	神経疾患/免疫疾患	precisionlife							
共同出資											
ORX750	OX2作動薬（経口）	低分子	ナルコレプシー1/2型、IH	Lilly 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	Lilly Orexia Therapeutics							
ORX489	OX2作動薬（経口）	低分子	神経疾患	Lilly 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											
ピヴラッツ®	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	Nxera							
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/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。

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	-
				Ph3	284	Yes	2025-05-08	2027-10	2026-03-06	NCT06963034	NCT07114874
				Ph3	284	Yes	2025-08	2027-11	2026-09-25	NCT07105098	NCT07114874
				Ph3	560	Yes	2025-12-16	2029-07	2026-09-25	NCT07227818	
			双極性障害	Ph2	150	Yes	2025-12-24	2028-02	2026-09-29	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	2026-02-16	2027-08	2026-07-22	NCT07288333	2023-508814-40-00
導出	NBI-1117567	M1 作動薬	AD/LBD	Ph2	135	Yes	2026-10	2028-05	2026-09-22	NCT07832383	-
導出	PF-07054894	CCR6 拮抗薬	炎症性腸疾患	Ph1	44	Yes	2022-11-07	2025-11-11	2026-02-25	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	ORX750	OX2 作動薬	ナルコレプシー1/2型、IH	Ph2	248	Yes	2024-12-23	2026-12	2026-04-27	NCT06752668	NCT07096674
				Ph2/3	222	Yes	2026-05-29	2027-09-30	2026-10-02	NCT07598708	-
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	S1P1 modulator	全身性エリテマトーデス（SLE）	Ph3	470	Yes	2022-12-13	2027-03-31	2026-09-15	NCT05648500	NCT06475742
				Ph3	451	Yes	2023-06-26	2026-12-31	2026-09-15	NCT05672576	
自社	NXE0048149	GPR52 作動薬	神経疾患	Ph1	24	No	2024-10-21	2025-11-15	2026-03-25	ISRCTN44913564	ISRCTN17231793
自社	NXE0039732	EP4 拮抗薬	がん免疫	Ph1/2	160	Yes	2023-08-02	2028-12-31	2026-10-01	NCT05944237	-
自社	NXE0033744	EP4 作動薬	炎症性腸疾患	Ph1	最大220	-	2024-02-20	2026-06-30	2026-03-25	ISRCTN70080074	-

* 主要評価項目完了日（見込）

潜在市場規模

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

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

		2026年	2025年	2024年	2023年	2022年
USD:JPY	実績	-	149.65	151.43	140.53	131.30
	期初予想	152	152	140	143	
GRP:JPY	実績	-	197.23	193.49	174.81	161.76
	期初予想	200	193	172	166	

無形資産

（百万円）

	2025年末	2024年末	2023年末	2022年末
ピヴラッツ®	34,802	36,164	37,527	-
創薬プラットフォーム	7,511	8,365	8,466	8,217
クービビック®	6,399	6,825	5,825	-
顧客関連	167	227	227	219
オラビ®	66	78	89	101
その他	285	252	157	40
合計	49,230	51,911	52,291	8,577

ノンコア費用（通期）

（百万円）

	2025年	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	2,784	2,371	1,495	782
企業買収関連費用	198	1,220	1,263	-
有形資産の償却費	1,582	1,613	983	563
株式報酬費用	1,749	1,396	844	542
構造改革費用	636	28	53	533
減損損失	1,160	-	-	-
合計	8,110	9,029	6,450	2,420

株式保有

（株）

	2025年末
Centessa	453,549
Biohaven	27,308

「コア営業利益」の導入

コア営業利益 ー 当社グループビジネスの実態により近い財務指標

営業利益
「コア」

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

＋重要な**非現金**支出費用

（有形固定資産償却費、無形資産償却費、株式報酬費用、減損損失など）

＋重要な**一時的**支出費用

（棚卸資産評価額、構造改革費用やその他の重要な一時的費用）

営業利益
「IFRS」

- 国際財務報告基準（IFRS）に準拠して記録・作成された業績

用語集（1/2）

基礎用語・基礎技術		
GPCR	G Protein-Coupled Receptor	Gタンパク質共役受容体。人体に約800種類あることが知られ、そのうち400種類が創薬ターゲットになりうることが知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
NxStaR™	Stabilized Receptor	GPCRに人工的に点変異を起こし、構造を安定化する当社独自の技術。安定化したGPCRの立体構造を解明し、SBDDでの創薬への利用や抗原として抗体医薬の創薬を行うことが可能
SBDD	Structure-Based Drug Design	構造ベース創薬。創薬ターゲットとなるタンパク質（受容体など）の三次元構造を解析し、それに基づいてコンピューター上で医薬品を設計する手法
TPD	Targeted Protein Degradation	標的タンパク質分解誘導薬。創薬ターゲットとなるタンパク質（受容体など）の細胞内での分解を促進し、量を減らすことで治療効果を狙う薬剤
PAM	Positive Allosteric Modulator	陽性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位（アロステリック部位）に結合し、作動物資の親和性と効果を増加させる調整因子
NAM	Negative Allosteric Modulator	陰性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位（アロステリック部位）に結合し、作動物資の親和性と効果を減少させる調整因子
Ag	Agonist	アゴニスト：作動薬。受容体に結合し、生体内物質と同様の細胞内情報伝達系を作動させる薬物
Ant	Antagonist	アンタゴニスト：拮抗薬。受容体に結合し、本来結合すべき生体内物質と受容体の結合を阻害し、生体反応を抑制する薬物
PK	Pharmacokinetics	薬物動態。薬剤の用法・用量と血中濃度の関係に関する研究・試験。主にADMEの速度過程を記述する
PD	Pharmacodynamics	薬力学。薬物濃度と薬理効果の関係に関する研究・試験
ADME	Absorption, Distribution, Metabolism and Excretion	吸収（absorption）・分布（distribution）・代謝（metabolism）・排泄（excretion）の頭文字。薬物の体内への吸収、体内への分布、肝臓などでの代謝、腎臓などでの排泄の一連の流れ
POM	Proof of Mechanism	作用機序の検証。主にバイオマーカーなどを通じて、作用メカニズムの証明を行うこと。POCよりも少数例で有効性の可能性を示唆する意味合い
POC	Proof of Concept	治療概念の実証。主に臨床での有効性と安全性によって、治療概念の証明を行うこと
Ach	Acetylcholine	アセチルコリン。副交感神経や運動神経の末端から放出され、神経刺激を伝える神経伝達物質
IND	Investigational New Drug	米国FDA（アメリカ食品医薬品局）に臨床試験の開始時に提出する、開発候補品の情報をまとめたパッケージとその提出
Ph1	Phase1	ヒトでの試験。第Ⅰ相臨床試験ともいう。主に健康なボランティアによって開発候補品の安全性を確認することを主目的とする
Ph2	Phase2	ヒトでの試験。第Ⅱ相臨床試験ともいう。主に小規模（但し、疾患によって人数は大きく異なる）に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確認することを主目的とする
Ph3	Phase3	ヒトでの試験。第Ⅲ相臨床試験ともいう。主に大規模（但し、疾患によって人数は大きく異なる）に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確定させることを主目的とする
NDA	New Drug Application	米国FDA（アメリカ食品医薬品局）に対して行う、新薬を市販するための承認申請

疾患名・薬品名		
LAMA	Long Acting Muscarinic Antagonist	長時間作用型抗コリン薬。副交感神経を亢進させるアセチルコリンの受容体（M3）に作用し、その働きを阻害することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
LABA	Long Acting Beta2-Agonist	長時間作用型β2刺激薬。気管支の交感神経β2受容体を刺激することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
ICS	Inhaled Corticosteroid	吸入ステロイド薬。抗炎症作用で気道の炎症を抑制し、喘息による咳の発作などを予防し、また、β2刺激薬の作用を促進し、気道過敏性を改善する吸入薬
mCRPC	Metastatic Castration–Resistant Prostate Cancer	転移性去勢抵抗性前立腺がん。前立腺がんの発生・進行に関与している男性ホルモンを抑える治療を行っているにもかかわらず、再び病状が悪化（再燃）してしまった前立腺がん
COPD	Chronic Obstructive Pulmonary Disease	慢性閉塞性肺疾患。喫煙や有害物質を吸入することで気管支や肺胞がダメージを受け呼吸障害をきたした病態
AD	Alzheimer’s Disease	アルツハイマー病。脳の神経細胞の減少、脳の一部の萎縮により認知機能が徐々に低下していく神経変性疾患で、認知症の中で最も多いタイプ
DLB	Dementia with Lewy Bodies	レビー小体型認知症。大脳皮質の神経細胞にレビー小体という物質が沈着し、認知症を生じるもの。アルツハイマー病に次ぎ、2番目に多い認知症

用語集（2/2）

創薬ターゲット関連		
M1	Muscarinic M1 Receptor	ムスカリンM1受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。学習、記憶に関与していると考えられている
M4	Muscarinic M4 Receptor	ムスカリンM4受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ドパミン放出に関与していると考えられている
CGRP	Calcitonin Gene-Related Peptide	カルシトニン遺伝子関連ペプチド。受容体を介して血管拡張、心拍数減少および心筋収縮力増大などに関与していると考えられている
A2A	Adenosine A2A receptor	アデノシンA2A受容体。アデノシン受容体の4種のサブタイプA1、A2A、A2B、A3の1つ。多くの組織に発現し神経活動、血管拡張、免疫調整など多くの機能を持つとされる
GLP-1	Glucagon-like Peptide 1	グルカゴン様ペプチド-1。食事をとると消化管細胞より分泌され、受容体を介した膵臓からのインスリン分泌や中枢での食欲調整に関与するとされる
CCR6	Chemokine Receptors 6	炎症時に発生するケモカインに対応する、Bケモカイン受容体の一種。主に炎症組織内への白血球の遊走活性を制御することで、炎症・免疫に関係するとされている
MC4	Melanocortin 4 Receptor	メラノコルチン受容体4。中枢神経系に発現し，αメラノサイト刺激ホルモンの食欲抑制作用を媒介する主たる受容体
GPR35	G Protein-Coupled Receptor 35	Gタンパク質共役受容体35。オーファン受容体。主に免疫および胃腸組織で発現し、消化管や循環器、炎症、中枢神経系の疾患に関与していると考えられている
CXCR4	CXC Motif Chemokine Receptor 4	CXCモチーフケモカイン受容体タイプ4。がん細胞の遊走を誘導し、転移などの過程に重要であるとされる
mGlu5	Metabotropic Glutamate Receptor 5	代謝型グルタミン酸受容体5。中枢神経系に発現する代謝型グルタミン酸受容体の1つ。グルタミン酸はヒトの神経系で最も豊富に存在する興奮性神経伝達物質として知られる
OX1、OX2	Orexin 1 Receptor、Orexin 2 Receptor	オレキシン1受容体およびオレキシン2受容体。オレキシンは、神経ペプチドの一種であり、受容体を介して覚醒の安定化および睡眠の抑制に関与していると考えられている
GPR52	G Protein-Coupled Receptor 52	線条体において多く発現するオーファン受容体。精神・神経疾患における前頭葉－線条体および大脳辺縁系のドーパミンの調節に役割を果たす可能性がある
H4	Histamine H4 Receptor	ヒスタミンH4受容体。特に免疫系細胞に多く発現し、炎症やアレルギーに関与していると考えられている
EP4	Prostaglandin EP4 Receptor	プロスタグラジンE受容体4。自然免疫および獲得免疫を抑制し、腫瘍の進行を誘導すると考えられている
PAR2	Protease-Activated Receptor 2	プロテアーゼ活性化受容体2。炎症、腫瘍転移、胃腸運動、痛み、かゆみのような多くの生理学的および病態生理学的プロセスに関連していると考えられている
SSTR5	Somatostatin Receptor 5	ソマトスタチン受容体5。主に小腸内分泌細胞や膵β細胞に発現している受容体で、ソマトスタチンの結合でGLP-1やPYYなどの消化管ホルモンの分泌を抑制する
GLP-2	Glucagon-like Peptide 2	グルカゴン様ペプチド-2受容体。腸内GLP-2は、栄養摂取時にGLP-1とともに分泌され、腸管の修復、保護にはたらく
Mpro	SARS-CoV-2 Main Protease	SARS-CoV-2（COVID-19の原因ウイルス）のメインプロテアーゼ（Mpro）。Sars-CoV-2の複製に必須な酵素。抗ウイルス薬の開発に際して標的となるタンパク質の一つ
5-HT	5-Hydroxytryptamine Receptor	5-ヒドロキシトリプタミン（セロトニン）受容体。セロトニンは、中枢神経系の伝達物質として、脳機能の調節において重要な役割を果たすと考えられている
オーファン受容体		遺伝子解析などにより存在が知られているものの、リガンドが特定されていない受容体。孤児受容体ともいう
リガンド		特定の受容体に対応して、生体内で特異的に結合する物質。ホルモンや神経伝達物質など。例えば、ムスカリン受容体のリガンドはアセチルコリン

Locations

東京都港区赤坂
9-7-2
ミッドタウンイースト
107-0052

日本 東京

F17, 410 Teheran-Ro
GangNam-Gu
Seoul 06192

韓国 ソウル

Steinmetz Building
Granta Park,
Cambridge
CB21 6DG

英国 ケンブリッジ

Burleigh-on-the-Strand
355-359 Strand
London
WC2R 0HS

英国ロンドン

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

スイス バーゼル

Thank you