



Vamorolone導入に関する説明会

2026年1月9日 | 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。

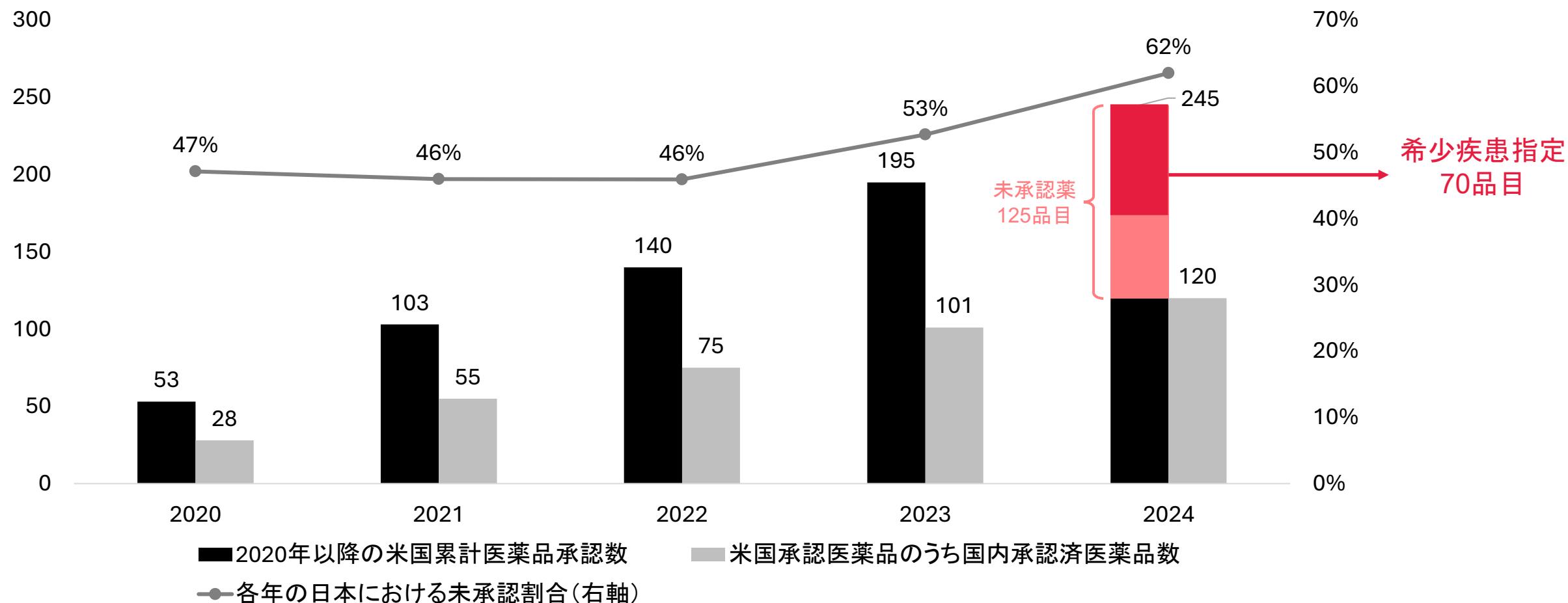
「ネクセラ」および当社グループのロゴは、当社グループの商標もしくは登録商標です。

命を支えること。それが私たちの使命です



日本のドラッグラグ・ロスの状況

過去5年のFDA承認品目のうち半数は国内未承認であり、特に希少疾患はロスが大きい





AGAMREE®の導入概要

スイスのサンセラ社からDMD治療薬、AGAMREE®(vamorolone)の導入を決定

提携先企業	Santhera Pharmaceuticals (サンセラ社) スイスの上場企業、2024年の売り上げ：39.1百万スイスフラン
対象製品	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 vamorolone (海外製品名：AGAMREE®)
導入条件	【契約一時金】 現金 : 30 百万米ドル Santhera社の株式購入 : 10 百万米ドル 【マイルストン】 開発：日本での開発に応じ、一定の金額を支払う 販売：販売額に応じ、一定の販売マイルストンを支払う 【ロイヤリティ】 <u>10%台前半</u> から始まる段階的ロイヤリティ
対象地域	日本・韓国・オーストラリア・ニュージーランド



DMDの疾患概要

DMDでは多くの開発が行われているものの、コルチコステロイド以外に確立した治療法はない

DMDの疾患概要

主な症状	進行性の筋力低下 歩行不能(歩行喪失) 心筋症 呼吸器系の問題
予後	進行性、多くの患者は10代前半で歩行能力を失う
現行治療	プレドニゾロン(コルチコステロイド) Viltepso(エクソン・スキッピング) (エクソン53スキップで効果がある患者にのみ適用:DMDの約10%)
アンメットニーズ	コルチコステロイド以外に有効性の確立した治療がない コルチコステロイドの副作用 (例:体重増加、成長抑制、骨粗鬆症、行動面の問題、白内障)
備考	コルチコステロイドは、疾患進行を2~3年遅らせ得る



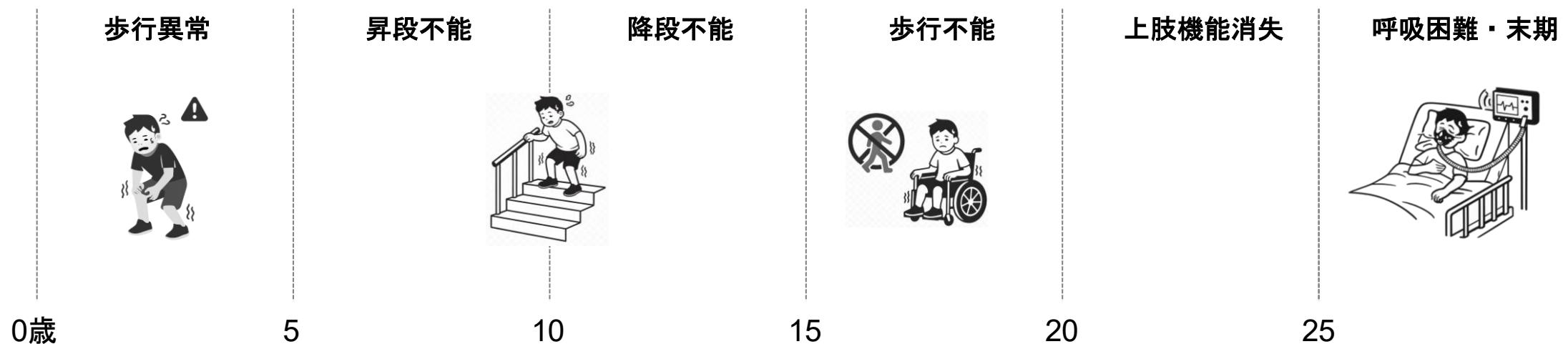


DMDの治療経過

診療ガイドラインにおいても、コルチコステロイド投与が幅広い疾患段階において推奨される

診療ガイドライン

	発症期 (~5歳)	歩行可能 前期	歩行可能 後期	歩行不能 前期・後期
診断 治療調整 環境整備	適切な方法を用いて確定診断。遺伝カウンセリング、保因者への助言・配慮が必要に応じ行う	通常はすでに診断を受けているが、まだであれば適切な方法を用いて確定診断を		両親・兄弟などの保因者への助言・配慮を必要に応じ行う
ステロイド治療	ステロイド治療に関する情報提供を行い、その選択肢を家族に提供	ステロイド治療開始を検討	ステロイド治療を継続	すでに投与が行われている例に対してはステロイド治療継続を考慮





日本におけるDMD治療薬の住み分け

コルチコステロイドはエキソン欠失に関わらず全てのDMD患者がターゲット

核酸医薬 (エクソンスキップ)	44	50	45	51	53	55	その他
全DMD患者に占める割合	6%	4%	8%	13%	8%	2%	59%

Vamoroloneの
ターゲット

Viltepso*の
ターゲット

歩行能力低下

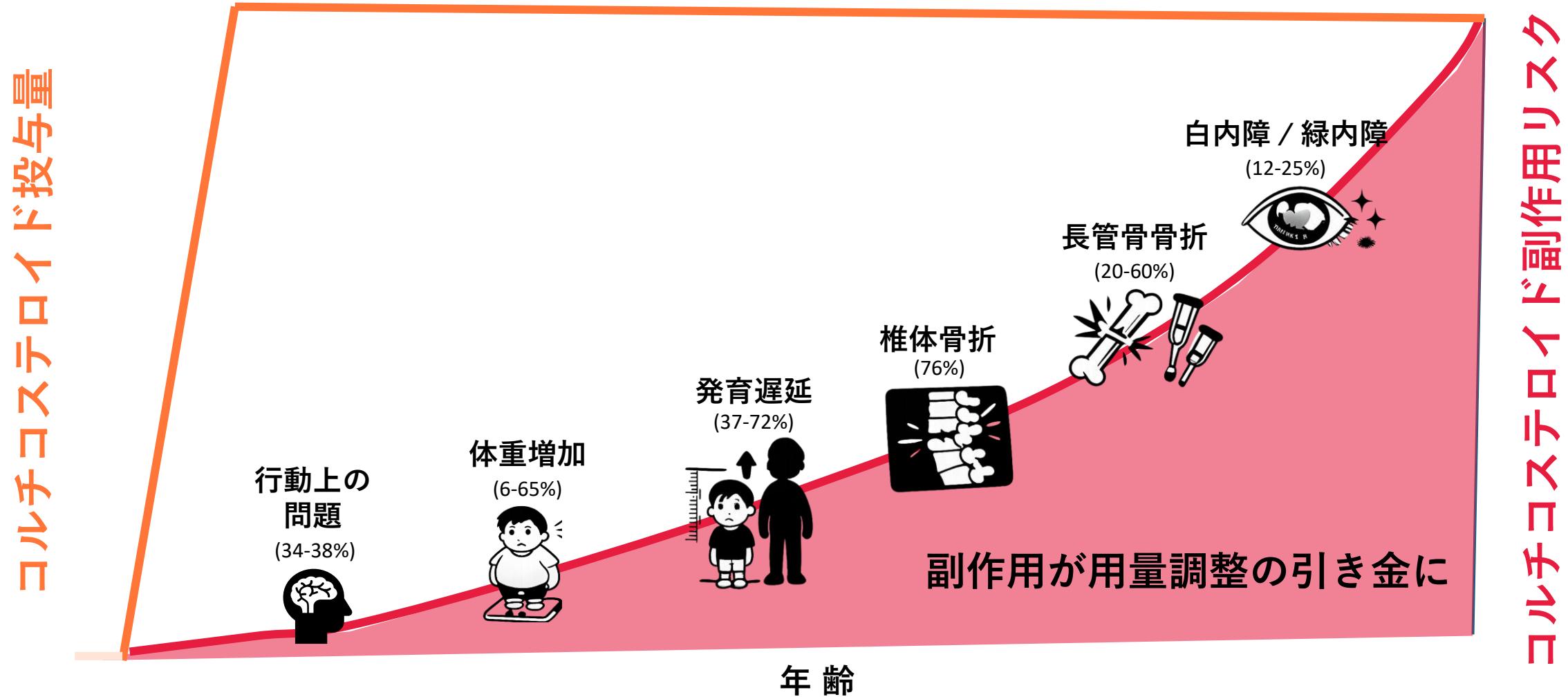
心機能低下

日本では広く使われる治療法としてはステロイド治療しかない

*ビルテブソは日本において条件付き早期承認制度により承認

コルチコステロイド治療の副作用

現状のコルチコステロイドは標準的に使用される一方で、長期投与に伴う副作用の問題も多い



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; 9. 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.



従来のコルチコステロイドとの差別化ポイント

従来のコルチコステロイド治療と比較し、治療薬由来の有害事象のリスクが抑えられている

有効性



- DMD患者に対する運動性試験において、従来のコルチコステロイド治療群の過去データ (historical control) と比較し同等程度の有効性を確認¹⁾

骨の発達障害



- prednisone（日本では未承認 [既承認のプレドニゾロンのプロドラッグ]）で見られた骨の代謝に対する影響は、vamoroloneでは見られず^{2) 3)}

成長障害



- prednisoneからvamoroloneに切り替えることで骨の代謝は回復^{2) 3)}
- vamorolone治療では、prednisoneで見られた成長阻害は見られなかった^{2) 3)}
- prednisoneからvamoroloneへの切り替えで成長速度が回復^{2) 3)}

安全性

行動障害



- Vamoroloneは行動障害の発生リスクを低減²⁾

白内障



- Vamoroloneは白内障の発生リスクを低減⁴⁾

1) Mah J, et al. JAMA Network Open 2022;5(1):e2144178.doi 10.100/jamanetworkopen.2021.44178

2) Guglieri M, et al. JAMA Neurol. 2022;79:1005–14

3) Dang UJ, et al. Neurology. 2023;102(5)e208112 (and supplement)

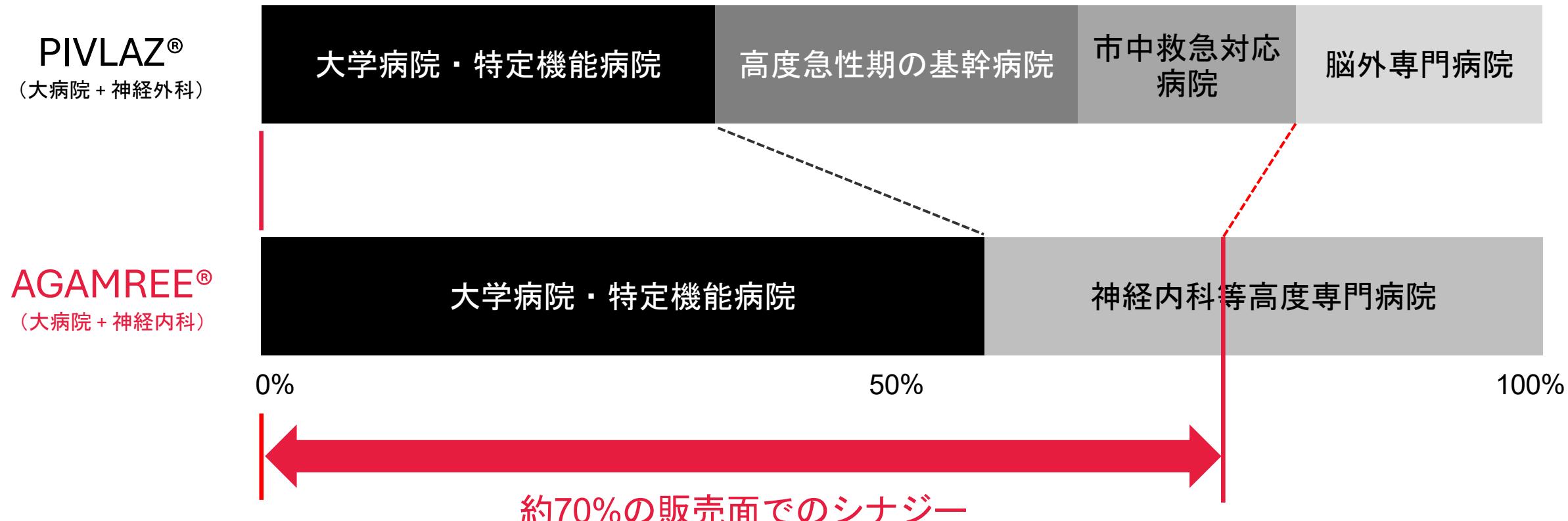
4) GUARDIAN Study (Nov.2025)



PIVLAZとのシナジー

DMD診療施設は少数施設に集約されていることに加え、施設ベースでPIVLAZと約70%の販売シナジーが見込まれる

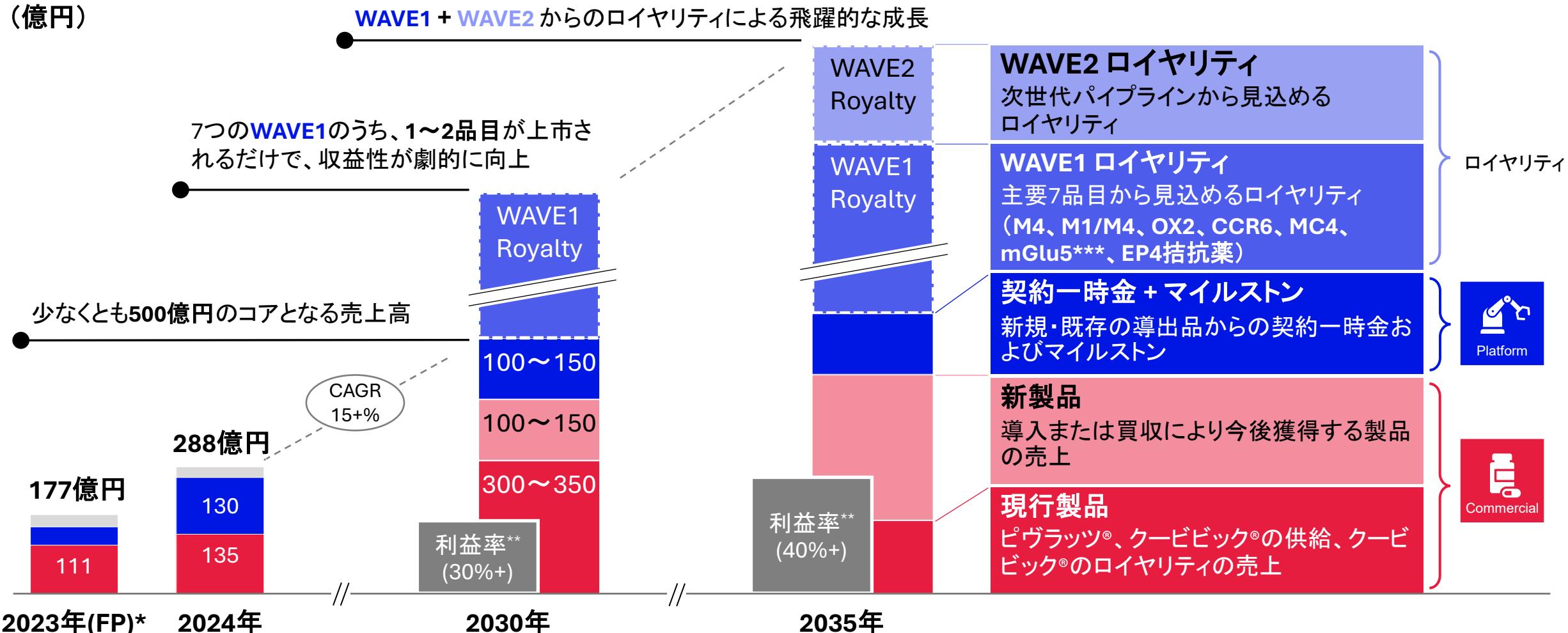
処方量に占める各病院の割合





2030年ビジョンへの貢献

(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年のピヴラツツ®の年間製品売上高を反映

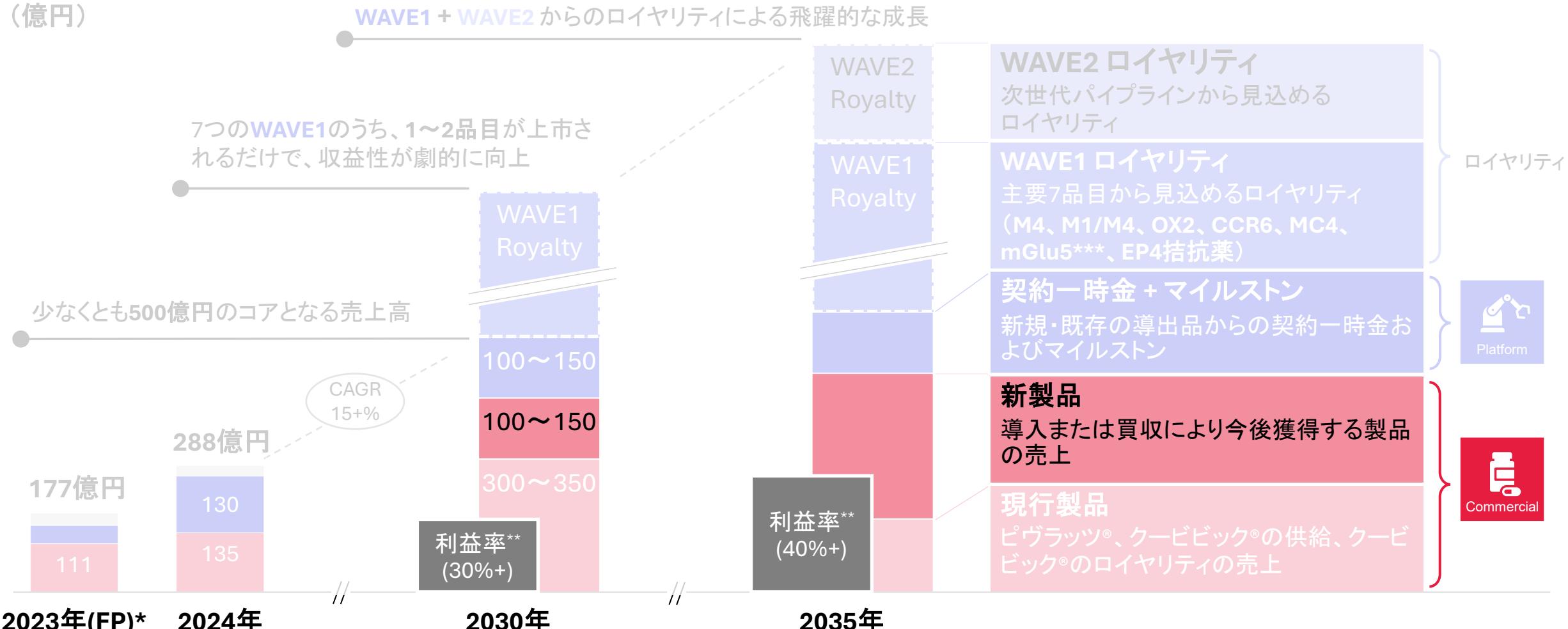
** WAVE1とWAVE2のロイヤリティは除外

***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



2030年ビジョンへの貢献

(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年のピヴラツツ®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



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

~

Thank you



BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS • BREAKTHROUGHS IN PROGRESS