

2024年4月16日

各位

本店所在地 東京都港区赤坂九丁目7番2号
会社名 ネクセラファーマ株式会社
(コード番号 4565 東証プライム)
代表者 代表執行役社長 CEO
クリストファー・カーギル
問い合わせ先 IR & コーポレートストラテジー一部
西下進一郎
電話番号 03-5210-3290 (代表)

**ニューロクライン社との提携プログラムである
経口 M4 受容体作動薬 NBI-1117568 の長期毒性試験が成功**

*NBI-1117568 は経口投与可能なムスカリン M4 受容体作動薬で
ニューロクライン社との研究開発提携により第 II 相臨床試験を実施中*

*長期の前臨床毒性試験が成功したことに伴い
ニューロクライン社から 15 百万ドル (約 2,302 百万円¹) を受領*

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、以下「当社」) は、提携先である Neurocrine Biosciences Inc. (以下「ニューロクライン社」、Nasdaq : NBIX) から、NBI-1117568 の長期前臨床毒性試験の成功を通知されましたので、お知らせいたします。NBI-1117568 は経口投与可能なムスカリン M4 受容体作動薬で、統合失調症およびその他の神経精神疾患治療薬候補として第 II 相臨床試験を実施中です。

このたびの長期前臨床毒性試験の成功に伴い、今後実施される臨床試験において、安全に長期投与を行うための米国食品医薬品局 (FDA) の要件を満たしました。この安全性に係る重要な進捗達成により、当社はニューロクライン社から 15 百万ドル (約 2,302 百万円) のマイルストーンを受領することになります。なお、本マイルストーンは全額、2024 年 12 月期第 2 四半期の売上として計上される見込みです。

ニューロクライン社と 2021 年に締結した提携契約のもと、主要な神経疾患の治療薬開発を目指して、サブタイプ選択的ムスカリン M4、M1 および M1/M4 デュアル受容体作動薬の広範な新薬ポートフォリオを当社は創出してきました。NBI-1117568 は、そのポートフォリオの中で最も開発が進んでいる候補品です。これらの候補品は、さまざまな神経疾患や神経精神疾患の治療薬となることが期待されており、以下の品目が含まれます。

- | | | |
|----------------|---------------------|--------------------------------|
| • NBI-1117568 | (M4 作動薬) | 第 II 相臨床試験実施中。試験結果は 24 年後半発表予定 |
| • NBI-1117570 | (M1/M4 デュアル作動薬) | 第 I 相臨床試験実施中 |
| • NBI-1117569 | (M4-preferring 作動薬) | 第 I 相臨床試験実施中 |
| • NBI-1117567* | (M1-preferring 作動薬) | 第 I 相臨床試験を 2024 年に開始予定 |

¹ 米ドル = 153.46 円

当社執行役副社長兼 Nxera Pharma UK 社長で英国研究開発ヘッドのマット・バーンズは次のように述べています。「NBI-1117568 が安全性試験に係る開発マイルストーンを達成したことを喜ばしく思います。この結果は、NBI-1117568 を安全に長期投与することが可能であることを示唆しており、長年にわたり治療を必要とすることが多い統合失調症をはじめとする神経疾患治療薬として、望ましい製品プロファイルを有する可能性を示しています。ニューロクライン社との提携は非常に生産性が高く、当社はこのたびの進捗を非常に心強く思っております。2024 年後半に予定されている第Ⅱ相臨床試験のトップラインデータを含め、臨床データやさらなる進捗報告ができることを楽しみにしています。」

*当社は、ムスカリン M1 受容体作動薬に関して、本提携に基づき開発される全適応症について、日本での開発販売権を保有しています

以上

ムスカリン受容体について

ムスカリン受容体は、脳、心血管系、消化管などのさまざまな組織に分布する G タンパク質共役受容体 (GPCR) です。脳内の M4 および M1 受容体への選択的作用は、統合失調症、アルツハイマー型認知症、パーキンソン病などの神経疾患の認知および神経心理学的症状を治療するための臨床的に評価されているアプローチです。

これまで、M4 および M1 受容体を選択的に標的とする医薬品の開発は、M2 および M3 受容体への作用による有害事象の発現のため、成功には至っていません。そのため、M2 または M3 受容体に影響を与えない極めて選択性の高い M4 または M1 作動薬が長く待ち望まれており、大型製品化とともに、重要なアンメットメディカルニーズに対応する可能性を秘めているものと期待されています。

NBI-1117568 について

NBI-1117568 は、当社が見出した経口投与可能な選択的ムスカリン M4 受容体作動薬であり、ニューロクライン社が統合失調症およびその他の神経精神疾患治療薬として第Ⅱ相臨床試験を実施中です。本候補化合物は、選択的な M4 オルソステリック作動薬であることから、非選択的なムスカリン作動薬では必要とされる、副作用を最小限に抑えるための併用療法を用いることなく治療効果を発揮する可能性があり、また、ポジティブ・アロステリック・モジュレーターと比較してアセチルコリン (ACh) との協同作用を必要としない点が特徴です。これまでの臨床試験で、NBI-1117568 は一般的に良好な忍容性を示すことが確認されています。

ニューロクライン社との契約について

2021 年 11 月、当社とニューロクライン社は、ニューロクライン社が統合失調症、認知症およびその他の精神神経疾患治療薬の開発を行うことを目的とした、新規ムスカリン受容体作動薬に関する戦略的研究開発提携およびライセンス契約を締結しました。

本契約に基づき、ニューロクライン社は、当社が見出し、主要な神経疾患の治療のために開発中であり、臨床および前臨床段階にある新規サブタイプ選択的ムスカリン M4、M1 および M1/M4 デュアル受容体作動薬の広範な

ポートフォリオの研究開発および商業化の権利を取得しています。ニューロクライン社は、日本で開発中のM1受容体作動薬を除き、本プログラムに関連するグローバルでの開発費を負担します。当社は、日本でのすべての適応症を対象にしたムスカリン M1 受容体作動薬の開発販売権を保持し、ニューロクライン社は、日本でのムスカリン M1 受容体作動薬に対する共同開発および共同販売のオプション権を保有します。

当社は、本契約に基づく条件の達成に応じ、研究開発資金と、最大 26 億米ドルの開発、申請・承認、販売マイルス、さらに売上高に応じた販売ロイヤリティを受領する権利を有しています。

ニューロクライン社について

ニューロクライン社は、神経科学を専門とするバイオ医薬品企業であり、大きなニーズがあるにもかかわらず、治療の選択肢がほとんどない人々の苦しみを和らげることをミッションに掲げています。十分な治療方法が確立されていない神経、神経内分泌および神経精神疾患を抱える患者さまのために、人生を変える治療法を発見し、開発することに取り組んでいます。ニューロクライン社は広範なポートフォリオを有しており、米国食品医薬品局（FDA）が承認した遅発性ジスキネジア、ハンチントン舞蹈病、子宮内膜症*、子宮筋腫*の治療薬のほか、重点治療領域において中期から後期の臨床プログラムを複数有しています。この 30 年間、複雑な病態を治療するために、神経科学および脳と身体のシステムの相互関係に対し独自の知見を応用してきました。身体を衰弱させる疾患や障害を抱える患者さまは、優れたサイエンスの恩恵を享受すべきであり、その負担を軽減するための医薬品をたゆまず探求しています。ニューロクライン社の詳細については、neurocrine.com、または [LinkedIn](#)、[X](#)（旧 Twitter）、[Facebook](#) をご覧ください（*はアッヴィ社との共同開発）。

「NEUROCRINE BIOSCIENCES」、「NEUROCRINE」および「YOU DESERVE BRAVE SCIENCE」はニューロクライン社の登録商標です。「Neurocrine」のロゴはニューロクライン社の商標です。

ネクセラファーマについて

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）は、テクノロジーに立脚したバイオ医薬品企業であり、日本および世界中のアンメットニーズにお応えし、患者さまの生活の質を向上させる新しいスペシャリティ医薬品をお届けすることを目指しています。

日本で販売されている複数の製品に加え、探索から後期臨床段階にある 30 品目を超えるプログラムからなる幅広いパイプラインの開発を、自社で、あるいは大手製薬企業やバイオ医薬品企業との提携により推進しています。このパイプラインは、神経疾患、消化器疾患、免疫疾患、代謝性疾患、希少疾患などの大きく成長する治療分野における主要なアンメットニーズにお応えすることに重点を置いており、業界をリードする独自の GPCR 構造ベース創薬「NxWave™」プラットフォームを活用して、ベストインクラスまたはファーストインクラスの候補化合物を持続的に創出しています。

詳しくは、ホームページ www.nxera.life/jp をご覧ください。

LinkedIn: [@NxeraPharma](#) | X: [@NxeraPharma](#) | YouTube: [@NxeraPharma](#)