

2025年5月1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部 西下進一郎
電話番号	03-5962-5718 (代表)

当社提携先であるニューロクライン社による成人の統合失調症患者を 対象とした NBI-1117568 のフェーズ 3 試験開始のお知らせ

*NBI-1117568 はニューロクライン社との複数プログラムに関する提携において
臨床開発中である経口の選択的ムスカリン M4 受容体作動薬*

詳細についてはニューロクライン社のリリース ([リンク](#)) を参照

ネクセラファーマ株式会社（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）が、NBI-1117568 の有効性、安全性、忍容性を評価するフェーズ 3 試験を開始しましたので、お知らせいたします。NBI-1117568 は、経口の選択的ムスカリン M4 受容体オルソステリック作動薬で、統合失調症治療薬として開発されており、[2024年8月](#)に統合失調症の成人を対象としたフェーズ 2 試験で良好な結果が得られています。

当社代表執行役社長 CEO であるクリストファー・カーギルは次のように述べています。「本日の発表は、NBI-1117568 が「NxWave™」を利用して設計された分子として初めてフェーズ 3 試験に進んだ点において、当社にとって極めて重要な進捗です。NBI-1117568 は、当社が創出しニューロクライン社にライセンス供与されたムスカリン受容体作動薬ポートフォリオの中で最も開発が進んでいる開発品です。これらの開発品は、精神神経疾患における複雑なニーズに応えるべく、当社の「NxWave™」プラットフォームを用いて設計されています。現在の治療法で十分に効果のない患者さまに対して、有力な治療法となる可能性があります。ニューロクライン社が今回、NBI-1117568 を次の段階に進めたことで、当社との提携全体にさらなる期待を抱いています。ニューロクライン社による NBI-1117568 のフェーズ 3 試験プログラムにおける進捗と、ムスカリン作動薬ポートフォリオ全体での進展についての更なる報告を発表できることを楽しみにしています。」

本フェーズ 3 試験は、症状の急性増悪または再発が認められる成人の統合失調症患者を対象に、NBI-1117568 の有効性を評価するグローバルな二重盲検プラセボ対照試験です。本試験では、約 280 名の患者を登録する予定です。本試験の主要評価項目は、陽性・陰性症状評価尺度（PANSS）合計スコアのベースラインからの変化量であり、主要な副次評価項目は、臨床全般印象評価尺度－重症度（CGI-S）のベースラインからの変化量です。

本リリースに関連したマイルストンの支払いは発生しません。本フェーズ 3 試験においては、最初の被験者への投与実施時に 15 百万米ドル（約 2,139 百万円¹）のマイルストンの支払いが発生します。このマイルストーン支払いの条件が達成された際には別途お知らせいたします。

以上

NBI-1117568 について

NBI-1117568 は、初めてかつ唯一の経口投与可能な選択的ムスカリン M4 受容体オルソステリック作動薬で、統合失調症治療薬として開発されています。神経伝達に關与するムスカリン性アセチルコリン受容体は 5 種類あります。ムスカリン受容体は脳機能において重要な役割を担っており、精神障害や認知機能障害における薬物標的として評価されています。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、オフターゲットの薬理作用に関連した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良好な安全性プロファイルを示す可能性があり、また、生体内のアセチルコリン (ACh) の有無に依存しません。

ニューロクライン社は、20mg 1 日 1 回投与群で主要評価項目を達成したフェーズ 2 試験の良好な結果に基づき、症状の急性増悪または再発が認められる成人の統合失調症患者を対象に、NBI-1117568 のフェーズ 3 試験を開始しています。フェーズ 2 試験の結果は以下の通りです。

- 6 週時点における統合失調症の陽性・陰性症状評価尺度 (PANSS : Positive and Negative Syndrome Scale) 合計スコアは、プラセボ投与群と比較し平均 7.5 ポイントの改善 (ベースラインから 18.2 ポイントの改善) となり、臨床的に意味があり統計学的にも有意な改善 (p=0.011、効果量 0.61) が認められた。
- CGI-S スケール、Marder 因子スコア (陽性症状)、Marder 因子スコア (陰性症状) などの追加評価項目においても統計学的に有意な改善が認められた。
- すべての用量で、NBI-1117568 の安全性と忍容性は概ね良好であり、消化器系および心血管系の有害事象は発生頻度が低かった。

当社がニューロクライン社にライセンス供与したムスカリン系化合物ポートフォリオの状況

NBI-1117568 に加え、ニューロクライン社はムスカリン受容体を選択的に標的とする臨床開発段階の広範なポートフォリオを保有しています。同社のムスカリン受容体作動薬ポートフォリオには、当社から研究開発および商業化の権利を取得した NBI-1117567、NBI-1117569、および NBI-1117570 も含まれます。

品目	主な作用機序 (M1-M4)	開発段階	治療領域	開発可能性のある領域
NBI-1117568	M4 受容体作動薬	フェーズ 3	精神障害 認知機能障害	アルツハイマー型認知症 双極性障害 レビー小体型認知症
NBI-1117567	M1 受容体作動薬	フェーズ 1		

¹ 1 米ドル = 142.57 円

NBI-1117569	M4 受容体作動薬	フェーズ 1		パーキンソン病 統合失調症
NBI-1117570	M1/M4 デュアル作動薬	フェーズ 1		

*ムスカリン M1 受容体作動薬に関しては、本提携に基づき開発される全適応症において、一定の例外を除いて、当社が日本での開発販売権を保有しています。

統合失調症について

統合失調症は、多様な症状を示す深刻で複雑な疾患です。世界保健機関（WHO）によると、この疾患が全世界で約2,400万人に影響を与えていると推定されています。また、米国での統合失調症の経済的コストは年間1,500億米ドルを超えると推計されています。全世界において障害の主な原因の一つであり、症状のある患者だけでなく、その家族や友人にも深刻な精神的・機能的な負担をもたらします。統合失調症は慢性疾患であり、遺伝的要因と環境要因の複雑な相互作用によって引き起こされると考えられています。従来の統合失調症の治療法は、抗精神病薬の使用に依存しており、これは短期・長期の健康への重大な影響を引き起こす可能性があります。

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。

当社は、東京、大阪、ロンドン、ケンブリッジ、バーゼル、ソウルに主要拠点を展開しており、350名を超えるグローバル従業員が活躍しています。

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](#)