

2026 年 10 月 28 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 部 都築伸弥
電話番号	03-5962-5718 (代表)

ファブリー病治療薬候補 lucerastat の日本およびアジア太平洋の一部地域における 独占的ライセンス契約締結のお知らせ

- ・ 日本、韓国、台湾およびその他のアジア太平洋の一部地域（中国を除く）を対象とする
オプション権を行使し、グローバルフェーズ 3 試験の推進に協力
- ・ 累計 400 人年超の臨床での投与経験を有する経口治療薬候補を導入し、
日本およびアジア太平洋地域における希少疾患領域の後期開発品ポートフォリオを拡充
- ・ イドルシア社は検証的フェーズ 3 試験（FAB-KLEAR）試験を本日開始、
早ければ 2029 年の承認申請を見据えたグローバル開発プログラムに当社も参加

ネクセラファーマ株式会社（以下「当社」）は、本日、Idorsia Pharmaceuticals Ltd.（本社：スイス、以下「イドルシア社」）からファブリー病治療薬候補 lucerastat のライセンスを取得するオプション権を行使し、共同開発・商業化契約（以下「本契約」）を締結したことをお知らせいたします。本契約に基づき、当社は、日本、韓国、台湾およびその他のアジア太平洋の一部地域（中国を除く、以下「対象地域」）における lucerastat の独占的な開発および商業化の権利を保有します。

当社は、2023 年 7 月にイドルシア社のアジア太平洋事業（中国を除く）を取得した際に、同社から本オプション権を取得しました。当社は、あらかじめ合意されたオプション権の条件に基づき、イドルシア社に契約一時金として 7 百万スイスフラン（約 1,334 百万円¹）を支払うとともに、グローバルフェーズ 3 試験の推進にも協力します。また、イドルシア社は、対象地域における純売上高に応じたロイヤリティを受領する権利を有します。

ファブリー病は、Gb3 と呼ばれる脂質が細胞内に蓄積し、腎臓、心臓および神経系に進行性の障害を引き起こす希少な遺伝性疾患です。lucerastat は、Gb3 の産生を抑制し、患者さまの遺伝子変異の種類やこれまでの治療歴にかかわらず作用することを目指して開発されています。フェーズ 3 試験（MODIFY）およびその長期継続試験では、Gb3 の持続的な低下が認められ、治療開始前と比較して腎機能の低下速度が緩やかになることが示唆され

¹ 1 スイスフラン=190.57 円

ました。6年以上 lucerastat の投与を受けている患者さまもいます。

イドルシア社が進めるグローバルフェーズ 3 試験プログラムには、成人男性患者 16 例を対象とする腎生検試験である FAB-KLEAR 試験と、患者 74 例を対象に lucerastat と標準治療である酵素補充療法の腎機能に対する影響を比較する試験が含まれます。本プログラムは、承認取得に向けた効率的な開発戦略について米国食品医薬品局（FDA）との協議・調整を経て策定されており、欧州医薬品庁（EMA）から得られた助言にも沿っています。当社は、この腎機能への影響を比較する試験に参加するとともに、日本における臨床開発の管理を担います。

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。「これまでに得られた臨床エビデンスと、具体化されたフェーズ 3 試験プログラムに基づき、ファブリー病の患者さまに対する lucerastat の可能性に確信を深めています。イドルシア社と緊密に連携して開発を進め、対象地域の患者さまに新たな治療選択肢となり得る本剤をお届けできることを期待しています。lucerastat の導入により、日本およびアジア太平洋地域で拡大する当社のポートフォリオに、後期開発段階にある希少疾患治療薬候補が加わります。」

イドルシア社の最高医学責任者兼グローバル臨床開発責任者である Amer Joseph 医師は次のように述べています。「最近公表されたフェーズ 3 試験（MODIFY）およびその長期継続試験の結果は、lucerastat が疾患の進行を抑制する可能性を裏付ける強いエビデンスとなっています。主要評価項目である神経障害性疼痛の軽減は達成されませんでした。これは主観的な評価項目であり、ファブリー病ではその達成が難しいことが明らかになりつつあります。一方、lucerastat では、バイオマーカー値の明確かつ持続的な低下と、患者さまの腎機能低下を遅らせる可能性を示す有望な兆候が認められました。次の段階は、承認取得に向けて規制当局が求める、治療前のベースラインと比較したデータを得ることです。」

本契約に係る契約一時金については、2026 年 2 月 13 日に公表した 2026 年 12 月期の連結業績予想に織り込んでおります。また、Lucerastat の開発の進展は、中長期的に当社グループの事業収益および企業価値の向上に寄与するものと考えております。

以上

Lucerastat について

lucerastat は、 α -ガラクトシダーゼ A の活性、GLA 遺伝子変異の種類、過去の酵素補充療法の有無にかかわらず、ファブリー病を治療することを目指して開発中の、経口の基質合成抑制療法薬です。グルコシルセラミド合成酵素を阻害することにより、グロボトリアオシルセラミド（Gb3）を含むスフィンゴ糖脂質の合成を抑制します。患者 118 例を対象としたフェーズ 3 試験（MODIFY）では、lucerastat はプラセボと比較して血漿中および尿中の Gb3 を有意に低下させました。非盲検継続試験の中間解析では、登録前 2 年間と比較して、lucerastat 投与中の腎機能の低下速度が緩やかになることが示唆されました（推算糸球体濾過量 [eGFR] の変化率：lucerastat 投与中 -1.64、投与前 -3.50）。また、長期投与において良好な忍容性が認められました。lucerastat は、米国および欧州連合（EU）で希少疾病用医薬品指定を受けています。

ファブリー病について

ファブリー病は、GLA 遺伝子の変異によって、 α -ガラクトシダーゼ A という酵素の活性が欠損または著しく低下する、希少な X 染色体連鎖性のライソゾーム病です。これにより全身に Gb3 が蓄積し、主に腎臓、心臓および神経系など複数の臓器・器官に障害が生じ、寿命の短縮や生活の質の低下につながります。ファブリー病では、診断に至らない場合や、他の疾患と誤診される場合が少なくありません。DelveInsight によると、主要 7 市場（米国、EU4、英国および日本）におけるファブリー病の診断患者数は、2020 年の約 16,000 人から 2034 年には約 21,000 人に増加すると予測されています。また、ファブリー病の市場規模は、2034 年までに約 40 億米ドルに達すると予測されています。

イドルシア社について

イドルシア社は、革新的な医薬品の創製、開発および商業化を通じて、より多くの患者さんに貢献することを目指しています。同社は、科学的知見を強みとする世界有数のバイオ医薬品企業への成長を目指しています。スイスのバーゼル近郊に本社を置くイドルシア社は、創薬研究から臨床開発、商業化に至るまで、幅広い分野において豊富な経験を有する専門人材を擁しています。同社は、不眠症治療に新たな選択肢をもたらす QUVIVIQ®（一般名：ダリドレキサント）をはじめ、有望な自社開発パイプラインを保有しています。また、強固なパートナーシップを通じて製品ポートフォリオの価値最大化を図るとともに、低分子医薬品に特化した独自の創薬基盤を活用し、患者さんの治療に変革をもたらす医薬品の創出に取り組んでいます。イドルシア社は、スイス証券取引所（SIX Swiss Exchange、証券コード：IDIA）に上場しています。

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。

当社は、価値が高く大規模、かつ成長著しい日本および APAC の広範な市場で、複数の上市済み製品をはじめ、画期的な医薬品の開発・販売を行うアジャイルで次世代の商業化ビジネスを展開しています。

当社独自の NxWave™創薬プラットフォームを活用して、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。このパイプラインには、ファーストインクラスまたはベストインクラスの候補化合物が含まれ、神経疾患・神経精神疾患、代謝性疾患、免疫疾患・炎症性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、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](#)