

2026年1月8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)

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療薬 vamorolone（AGAMREE®）の 日本及びアジア太平洋地域におけるライセンス契約締結のお知らせ

vamorolone は米国、欧州連合、英国および中国において DMD 治療薬として承認・販売

既存ステロイド治療では課題となる成長・骨代謝等への悪影響を大きく低減できる可能性が示唆、
安全性プロファイルの改善により、国内で承認されているステロイド治療を置き換える可能性

2030 年ビジョンの達成に向け大きく前進

ネクセラファーマ株式会社（以下「当社」）は本日、サンセラ・ファーマシューティカルズ・ホールディング（以下「サンセラ社」）と、日本、韓国、オーストラリアおよびニュージーランドにおけるデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療薬 vamorolone（海外製品名 AGAMREE®）の開発、製造および商業化に関するライセンス契約を締結したことをお知らせいたします。vamorolone は、遺伝性の神経筋疾患である DMD に対する治療薬として、米国、欧州連合、英国および中国において AGAMREE® の名称で承認・販売されております。

vamorolone の導入により、当社の希少疾患・スペシャリティ領域におけるポートフォリオに、日本およびアジア太平洋（以下「APAC」）地域で DMD とともに生きる患者さんやご家族、介護者の皆さまが抱える大きなアンメットニーズに応えうる、後期開発段階の候補品が加わります。当該ポートフォリオには、PIVLAZ®（クラゾセンタン）が含まれ、日本で承認・販売されております。

契約条件に基づき、当社は対象地域における vamorolone の開発・承認申請等を実施するとともに、商業化および製造活動を主導いたします。本ライセンス契約は、特に日本を中心に APAC 地域全体で培ってきた当社の商業化能力、開発力および薬事の専門性を活用するものです。当社のチームは、2023 年のイドルシアの日本および APAC 事業の買収を通じて、同地域における開発および製造の重要な経験を有しております。

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。「サンセラ社と提携し、日本、韓国、オーストラリアおよびニュージーランドの DMD 患者さんに vamorolone を届けられることを大変喜ばしく思います。vamorolone は、有効性および安全性における差別化されたプロファイルにより、早期使用、十

分量での投与、長期治療を可能にすることで、同地域で現在用いられている既存ステロイド療法の限界を克服し、DMDにおける標準治療を根本的に変革しうる可能性があります。

さらに、本取引は日本/APAC 向けの後期段階および上市段階の製品ポートフォリオを拡充し、2030 年ビジョンに沿ってこれら重要地域の患者さんへ革新的医薬品を届けるという当社の使命を前進させるものです。高成長・高収益の日本発のリーディングバイオ医薬品企業の構築に向け、力強い一步となります。」

サンセラ社の最高経営責任者（CEO）である Dario Eklund は次のように述べています。「本戦略的パートナーシップは、vamorolone (AGAMREE[®]) の世界的なアクセス拡大という当社の使命における重要なマイルストンであり、世界中の DMD 患者さんに意義ある新たな治療選択肢を届けるものです。日本およびより広範な APAC 地域におけるネクセラファーマの深い専門性と確立されたインフラは、これらの市場で vamorolone (AGAMREE[®]) の商業的・臨床的ポテンシャルを最大限に引き出し、DMD 患者さんの治療へのアクセスを加速するうえで理想的なパートナーであることを示しております。」

なお、本件が当社の 2026 年 12 月期の当社連結業績に与える影響は軽微です。

取引条件

対象地域における vamorolone (AGAMREE[®]) の開発、製造および商業化の権利の対価として、当社はサンセラ社に対し 4,000 万米ドルの一時金を支払います。内訳は、現金 3,000 万米ドルおよび戦略的株式投資として 1,000 万米ドル。サンセラ社はさらに、開発及び販売マイルストンとして最大 1 億 6,500 万米ドル当社から受領する資格を有し、また対象地域における vamorolone (AGAMREE[®]) の純売上高に対して、10%台前半から始まる段階的ロイヤルティを受領する権利を有します。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）は X 染色体連鎖性の遺伝性希少疾患で、ほぼ男性のみに発症します。DMD は出生時または出生直後から存在する炎症を特徴とします。炎症は筋肉の線維化を引き起こし、臨床的には進行性の筋変性および筋力低下として現れます。本疾患の主要な症状には、歩行能力の喪失、自力摂食の喪失、補助換気の開始、心筋症の発症が含まれます。DMD は呼吸不全および/または心不全により、平均余命を 40 歳未満にまで短縮します。DMD 治療における現在の標準治療はコルチコステロイドです。

vamorolone (AGAMREE[®])

vamorolone (AGAMREE[®]) は、グルココルチコイドと同じ受容体に結合しつつ、その下流シグナル活性を修飾するという作用機序に基づく新規薬剤です。さらに、局所組織における薬物増幅やコルチコステロイド関連毒性に関与しうる 11- β -ヒドロキシステロイド脱水素酵素 (11 β -HSD) 酵素の基質ではありません [1-4]。この作用機序は、有効性を維持しながらステロイドに関する安全性懸念を「切り離す (dissociate)」可能性を示しており、vamorolone (AGAMREE[®]) は「解離型 (dissociative) 抗炎症薬」として位置付けられ、DMD の小児および思春期患者における現在の標準治療である既存コルチコステロイドに代わる選択肢となり得ます

[1-4]。

主要試験である VISION-DMD 試験において、vamorolone (AGAMREE[®]) は 24 週時点で、プラセボに対して主要評価項目である床からの立ち上がり時間 (TTSTAND) で有意差を達成しました ($p=0.002$) [1,4]。また、安全性および忍容性は良好なプロファイルを示しました [1,4]。最も一般的に報告された副作用は、クッシング様徵候、嘔吐、体重増加、易刺激性でした。副作用は概ね軽度から中等度でした。GUARDIAN 試験の 5 年間の追跡データでは、椎体骨折の減少、白内障発症率の低下、および正常な成長率の維持を示し、安全性プロファイルにおいて大幅な改善を示しました。

現在得られているデータでは、vamorolone (AGAMREE[®]) はコルチコステロイドとは異なり成長抑制がなく [5]、また骨形成・骨吸収の血清マーカーが正常であることから、骨代謝に悪影響を及ぼさないことが示されています [6]。

参考文献

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112.
- [2] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480.
- [3] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] Ward et al., WMS 2022, FP.27 - Poster 71.
- [6] Hasham et al., MDA 2022 Poster presentation.

以上

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、肥満症・代謝障害、神経疾患・神経精神疾患、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](#)