

事業計画及び 成長可能性に関する事項

ジェイファーマ株式会社

2026年6月



企業理念

SLCトランスポーター創薬の新たな可能性を追求し、グローバルベンチャーとして世界中の人々が抱えるアンメット・メディカル・ニーズに応える革新的新薬の開発を通じ、人々が健康を維持し、希望を持ち続けることに貢献します

代表取締役社長

吉武 益広



現行の治療に限界がある疾患にはまだ開拓されていない新しい作用機序の薬剤を探求することが求められます。私は30年以上にわたり、この夢を追うような新薬の研究開発に従事し、実績を残してまいりました。

私が今もなお追っている夢の一つに、“太陽のように温かい抗がん剤”の開発が残っています。それは従来の“北風のような化学療法”とは異なり、患者さんに優しく寄り添いながら、確かな効果をもたらす治療法の探求です。

当社が開発するナンブランラトは、安全性に優れ、高齢のがん患者さんにも長期にわたり投与でき、“Feel Better & Live Longer”を実現できる新薬だと確信し、培ってきた全てのグローバル研究開発の経験と知恵を注ぎ込み、世界中の患者さんに福音を届けに行きたいと考えています。

すでに当社は、社内外で一丸となって取り組むグローバル研究開発体制を構築し、胆道がんを対象にグローバルフェーズ3を開始し、米国での治験施設立ち上げおよび初回投与まで進展しました。これは日本のバイオベンチャーとして極めて稀な成果です。さらに、胆道がん1次療法のICI併用試験やJPH034の米国フェーズ1も進み、当社の技術を医薬品として世界中の患者さんに届け、“日本発グローバル創薬ベンチャー”として持続的・飛躍的な成長を実現してまいります。

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- 事業のリスク

Agenda

- **会社概要**
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス/テクノロジー
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- 事業のリスク

ジェイファーマ株式会社 概要

グローバルフェーズ3とそれに続く複数の臨床パイプラインを有する創薬ベンチャー

設立 | 2005年12月

所在地 | 東京都港区

従業員数 | 17名 (2026年6月1日時点)

事業内容 | SLCトランスポーターを標的とする低分子薬の研究・開発

ファイナンス | 累計150億円以上を調達 (エクイティおよび補助金)



F・PRIME



NEWTON
BIOCAPITAL



XIF CROSSOVER
IMPACT
FUND

Untrod × 野村アセットマネジメント

など

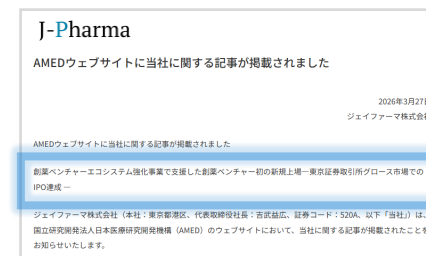
ナンブランラト：胆道がんでの開発進捗

- 2次療法（単剤）：グローバルフェーズ3開始
米国で治験施設立ち上げ・初回投与開始
- 1次療法（ICI併用）：医師主導試験開始
抗PD-L1抗体維持療法への上乗せ効果を検証



JPH034：米国フェーズ1の進捗

- 多発性硬化症を対象に米国フェーズ1開始
初回被験者への投与開始



高い市場ポテンシャルをもつLAT1阻害剤プロジェクト

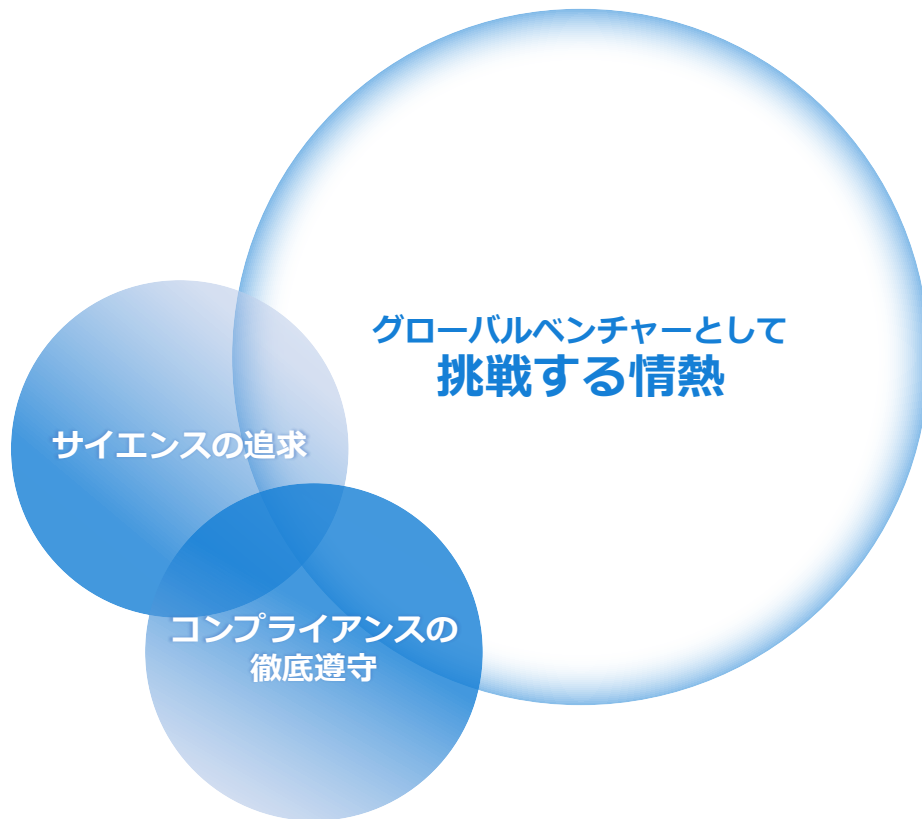
- ナンブランラト：胆道がん、KRAS変異大腸がん、希少疾患
- JPH034：多発性硬化症、グリオーマ
- 次世代LAT1阻害剤：がん・自己免疫疾患・希少疾患



グローバルベンチャーとしての挑戦

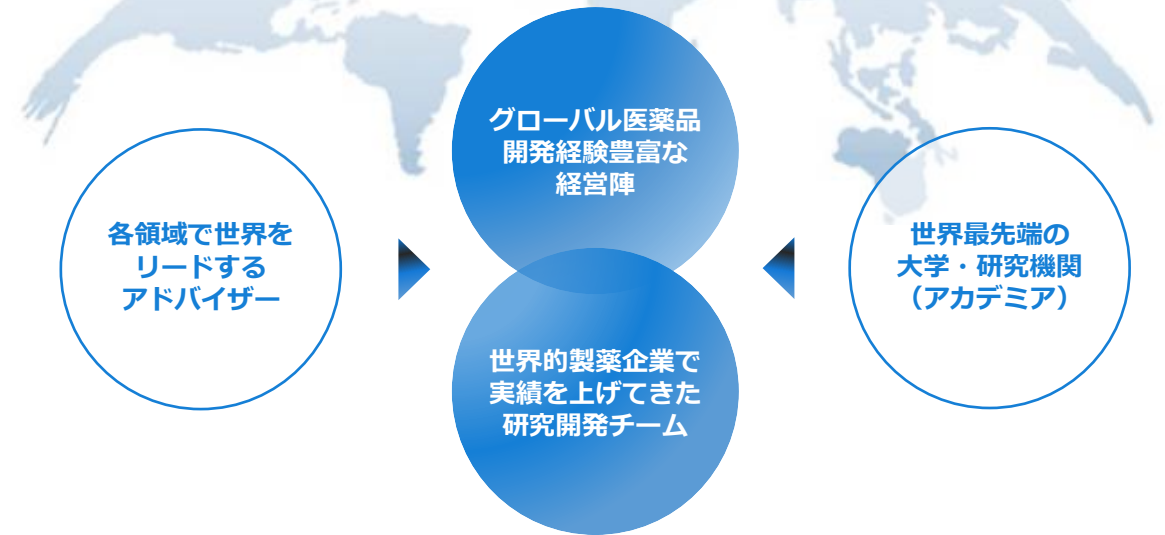
世界に通用する研究開発体制を整え、巨大なグローバル医薬品市場に挑戦

ジェイファーマの行動規範



グローバルベンチャーとしての体制構築

グローバルでの医薬品の承認を目指した研究開発を実施しており、
そのための体制を構築



経営陣の構成

グローバル医薬品事業に精通する取締役

代表取締役社長

吉武 益広



- 40年の業界経験
- メガファーマにおいて30年以上に渡りグローバル医薬品事業のリーダーシップポジションを歴任し、3つの医薬品のFDA・EMA承認を獲得
- 当社リード化合物の国内フェーズ2に成功。FDAより合意を獲得し、グローバルフェーズ3を開始

取締役CFO

藤本 裕



- 20年の業界経験
- コンサル・メガファーマにおいてグローバルマーケティングを担当
- 創業したスタートアップの価値を200倍に高めファンドに売却
- 当社に2.9億円出資
- 当社において累計90億円の資金調達をリード

取締役CBO

山本 寛



- 20年以上の業界経験
- 製薬、バイオテック、プティック型投資銀行においてマネジメントと事業開発(BD)を経験
- 医薬品ライセンス、資金調達・IPO支援、M&A、新会社設立など、幅広いBD領域に精通

取締役構成とスキルマトリックス

		資格・略歴	成長ドライバー（攻め）					事業基盤の強化（守り）				サステナビリティ（ESG）		
			企業戦略・マーケティング	グローバルビジネス	技術・研究開発			知的財産	財務・会計		人事・人材開発	法務・リスク管理	環境・社会	内部統制・ガバナンス
					臨床開発	非臨床/基礎	製造・品質管理		財務戦略	会計				
吉武益広	代表取締役社長	大手製薬企業で30年以上のグローバルリーダーシップ経験	●	●	●	●	●			●			●	
藤本裕	取締役CFO	20年の業界経験、起業・Exit、資金調達、IPO経験	●	●			●	●	●	●	●		●	
山本寛	取締役CBO	製薬企業・バイオテック・投資銀行でのマネジメント、事業開発経験ならびに起業経験	●	●				●		●		●		
上原祐香	社外取締役	資本市場業務を通じた資本政策・IR・企業価値向上に関する知見		●				●	●			●	●	
森俊介	社外取締役	監査等委員	●	●		●	●	●		●		●	●	
田島照久	社外取締役		●					●	●				●	
川口幸作	社外取締役		●								●		●	

当社の主なアドバイザー

開発を行う主要な疾患領域で、世界をリードする専門家から助言を得る

胆道がん



古瀬純司, M.D., Ph.D.

神奈川県立がんセンター総長

臨床



Dr. Eric Rowinsky, M.D.¹

Cancer Therapeutic Development and Regulatory Consultant

臨床

薬事



Dr. Michael Szarek, Ph.D.¹

Research Professor, University of Colorado and Mount Sinai New York; Venrock

統計学

薬事

多発性硬化症



Dr. Jeff Huang, Ph.D.

Associate Professor,
Georgetown University

基礎研究



Dr. Pavan Bhargava, M.D.

Associate Professor
Johns Hopkins Hospital

臨床



Dr. Laura Airas, M.D., Ph.D.²

Professor of Neuroimmunology,
University of Turku

画像診断

臨床

注：1. Dr. Eric Rowinsky, M.D. と Dr. Michael Szarek, Ph.D. は、当社との直接のアドバイザー契約ではなく、米国の薬事・開発コンサルティング会社を通じての間接的な契約 2. Dr. Laura Airas, M.D., Ph.D. は当社と Turku University Hospital との間の委託研究契約に署名する Principal Investigator

委託/共同研究、ライセンス契約を行う研究機関

国内のみならず世界最先端の研究機関と協業体制を構築

アルファベット順

ライセンス契約を行う研究機関

GEORGETOWN
UNIVERSITY

(米国)



大阪大学

開発する疾患領域における治療ポテンシャルをさらに明らかにするための、委託/共同研究パートナー

GEORGETOWN
UNIVERSITY

(米国)



Turku PET
CENTRE

(フィンランド)

基礎的な研究を行う、委託/共同研究パートナー



金沢大学



Jihs

国立健康危機管理
研究機構



東京慈恵会医科大学

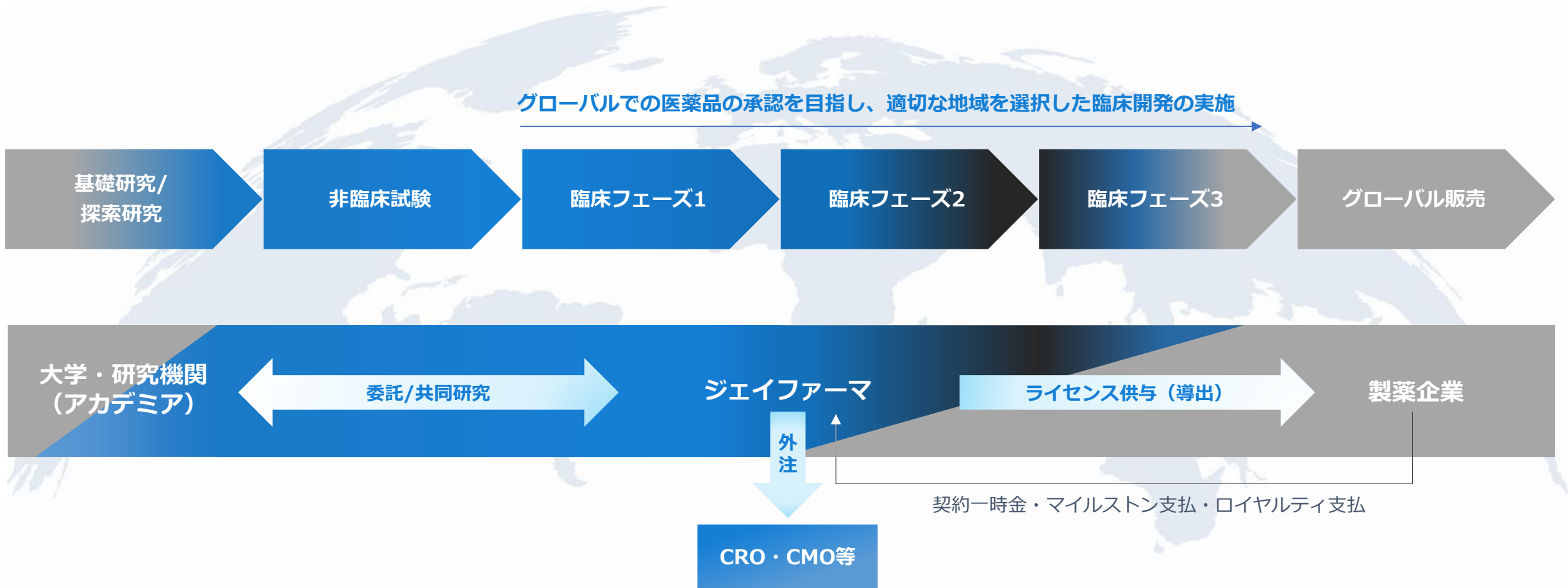
栃木県立がんセンター



横浜市立大学

ジェイファーマの事業モデル

グローバル開発により化合物の価値を確立、グローバル導出により収益化



- 可能な限り開発後期段階まで自社開発を進める方が、大型のライセンス契約に繋がる一方で、開発後期段階はリスクや費用も高くなるため、開発プログラムごとにリスクとリターンバランスから導出タイミングを適切に判断する

グローバル医薬品開発の重要性

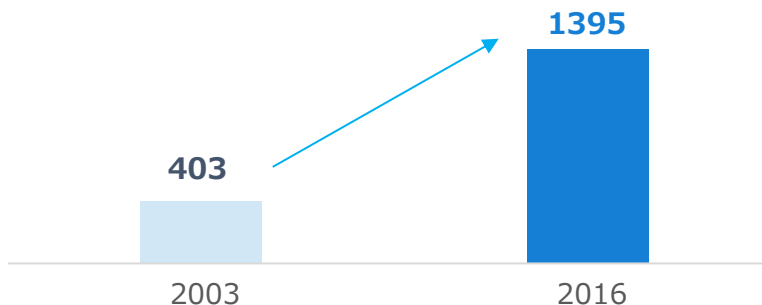
自社でグローバル開発できるかどうか成長の鍵となる

新薬開発費用が上昇を続ける中、日本市場の割合が急激に低下している

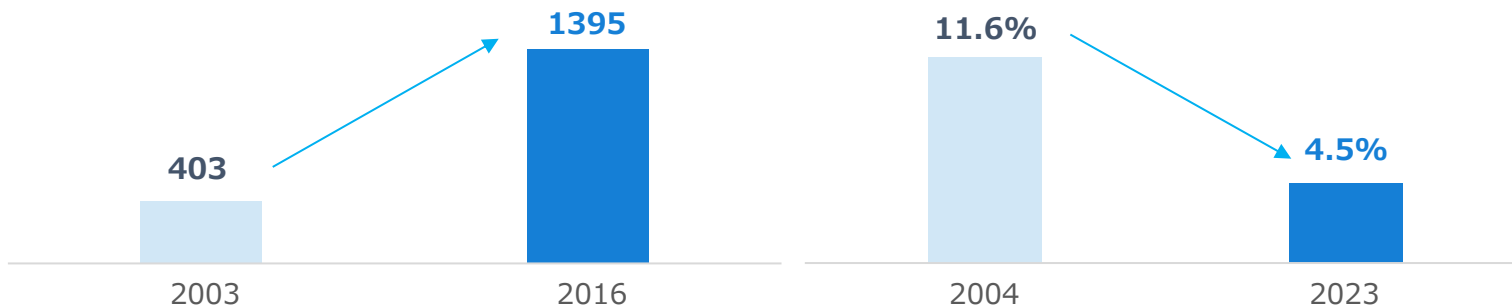
日本のバイオテック企業が、開発の初期段階の化合物を海外企業に導出しても開発が進展せず、契約解消に至る例が頻発している

製薬企業においても、グローバル対応の成否が明暗を分けている

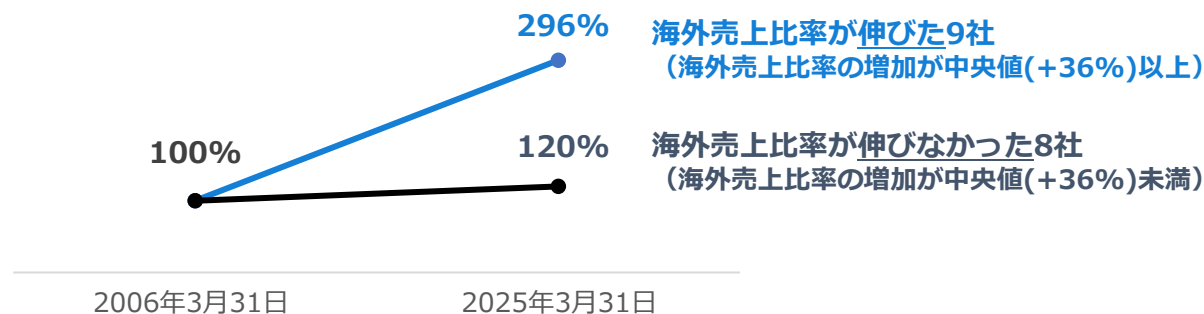
1つの開発品を承認まで導く費用 (M USD) ¹



医薬品市場における日本市場の占める割合²



製薬企業における時価総額上昇率³



- このような状況を受け、当社では自社主体でグローバル開発を可能な限り推進することとし、そのための体制を構築している

出所：1. DiMasi, Joseph A et al. Journal of health economics vol. 47 (2016) | DiMasi, Joseph A et al. Journal of health economics vol. 22,2 (2003) 2.製薬協 Data Book 2025 3.各社発表資料とYahoo!Financeのデータを元に当社にて作成 (対象企業は、2005年度から2025年度まで株式公開しており、直近の決算年度である2024年度の新薬事業の売上が総売上高の85%以上を占める17社)

LAT1阻害剤：開発パイプライン：2026年6月現在

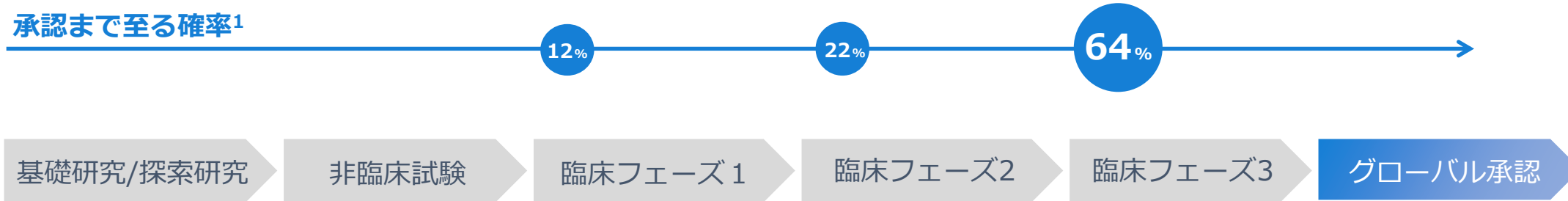
2026年6月現在、特に注力して進行中の開発プログラム
 (その他のプログラムは資金状況やコストを踏まえ、段階的に推進)

化合物	対象疾患		開発ステージ				
			基礎研究	非臨床試験	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
First-in-Class ナンブランラト (JPH203)	胆道がん 2次療法	単剤療法	[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ2]				グローバル
	胆道がん 1次療法	ICI併用療法	[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]			JP	
	KRAS変異大腸がん		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]			US	
	希少疾患		[Progress bar from 基礎研究 to 非臨床試験]				
中枢神経系 (脳) 移行型 JPH034	再発を伴わない 2次性進行型多発性硬化症		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]			US	
	グリオーマ		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]			US	
Best-in-Class (JPT-0008)	がん全般・自己免疫疾患・ 希少疾患		[Progress bar from 基礎研究 to 非臨床試験]		JP		

注：開発ステージにかかる記載は今後の開発予定を記載したイメージ図であり、実際は異なる可能性がある

医薬品のグローバル開発、承認に至る確率と、必要とされる開発費

承認まで至る確率¹



ナンブランラト

JPH034

データ・人材・資金を
結集し、
未踏の世界の難峰へ挑む

未踏の世界の難峰を
踏破すると
大きなリターンに繋がる

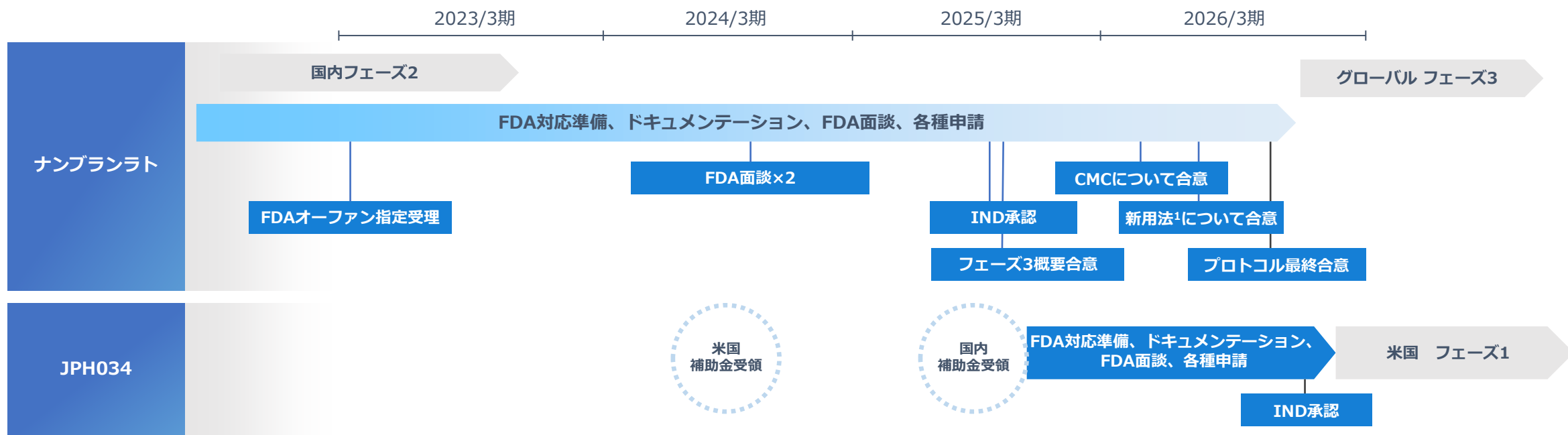
FDA対応実績

当社の稀有なグローバル対応力を実証

国内臨床データのみでグローバルフェーズ3に進むのは稀で、日本のバイオベンチャーでは達成事例がほとんどない成果

当社は2年以上かけてFDAとの対話を繰り返し、グローバルフェーズ3開始
2026年5月には最初の患者への投与を開始し、稀有なグローバル対応力を実証

並行して、2剤目についてもFDAの承認を得て、米国フェーズ1を開始し、2026年3月に最初の被験者への投与を実施
グローバル対応の再現性を実証



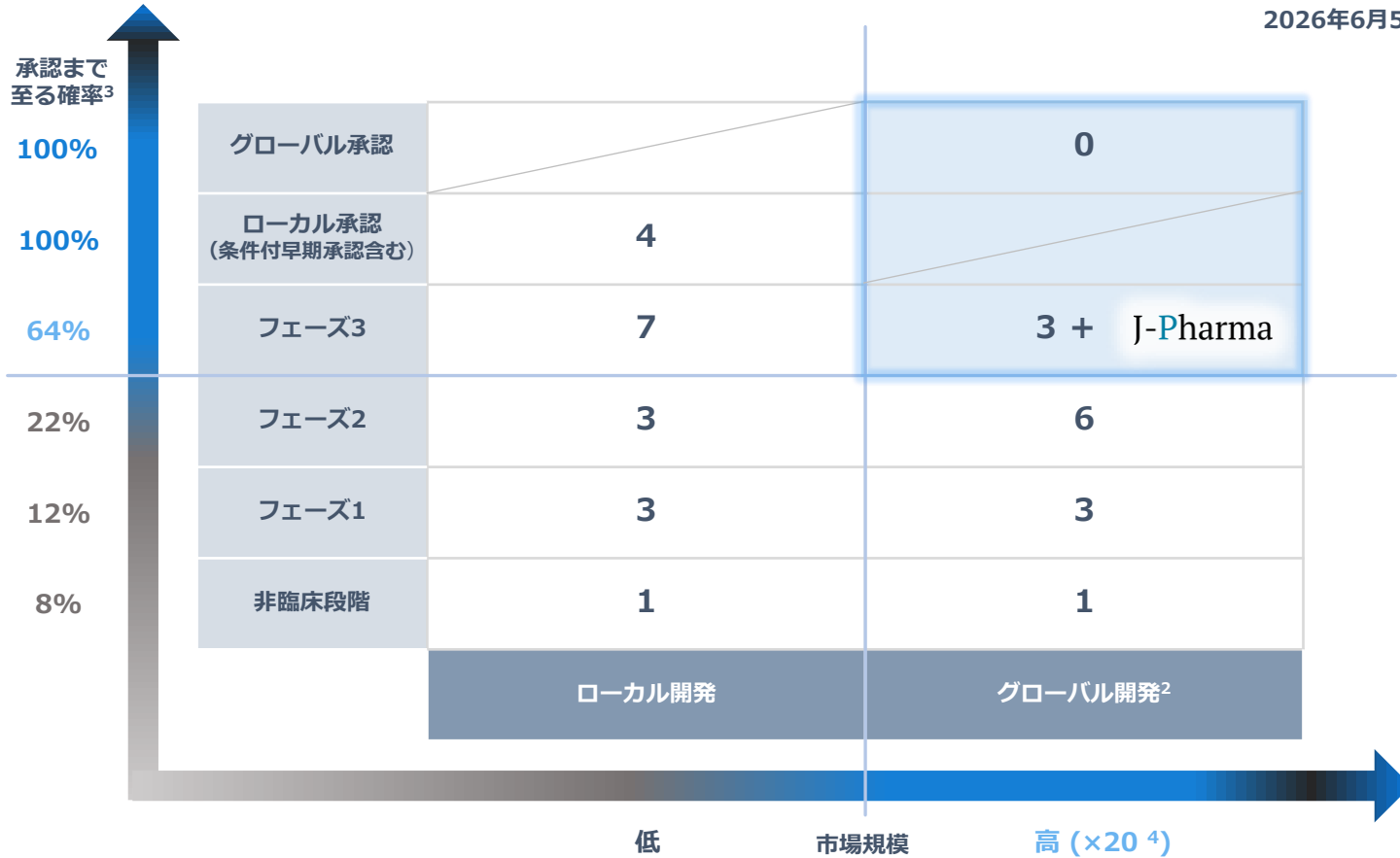
注：1. 46時間持続点滴によりナンプランラトの投与を行う用法

上場バイオテック企業との比較

成功確率が高く、大きな価値を生み出すグローバルフェーズ3に至る、数少ない達成

東証グロス上場創薬バイオテック企業32社（含、ジェイファーマ）リード化合物の開発ステージ¹

2026年6月5日時点



一般に成功確率が高いとされる
フェーズ3が成功すればグローバル
承認を目指せる段階

この段階に至っている国内バイオテック
企業はほとんどいない
(32社中、当社を含めて4社)

注：1. 本資料での開発ステージは、最も進捗している化合物の開発フェーズを示す 2. 開発地域に EU または米国 (us) が含まれる場合、グローバル開発としてカウント
出所：1. 各企業HP, GlobalData Pharma Intelligence Centerより 3. 経済産業省/厚生労働省「創業ベンチャーの育成」2021 4. 製薬協 Data Book 2025 (グローバル医薬品市場に占める日本市場の割合は4.5%に留まるため、日本市場に対するグローバル市場の規模は20倍以上)

隠れたチャンピオンに至るまでの道のり



※本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性がある

Agenda

- 会社概要
- **直近のTopicsと2027年3月期の見込み**
 - **開発の進捗と見込み**
 - 事業化について
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- 事業のリスク

胆道がん2次療法を対象とするグローバルフェーズ3 (Beacon-BTC) の進捗及び見通し

化合物	対象疾患		開発ステージ				
			基礎研究	非臨床試験	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
First-in-Class ナンブランラト (JPH203)	1 胆道がん 2次療法	単剤療法	[進捗バー]				グローバル
	胆道がん 1次療法	ICI併用療法	[進捗バー]			JP	
	KRAS変異大腸がん		[進捗バー]			US	
	希少疾患		[進捗バー]				
中枢神経系 (脳) 移行型 JPH034	再発を伴わない 2次性進行型多発性硬化症		[進捗バー]			US	
	グリオーマ		[進捗バー]			US	
Best-in-Class (JPT-0008)	がん全般・自己免疫疾患・ 希少疾患		[進捗バー]		JP		

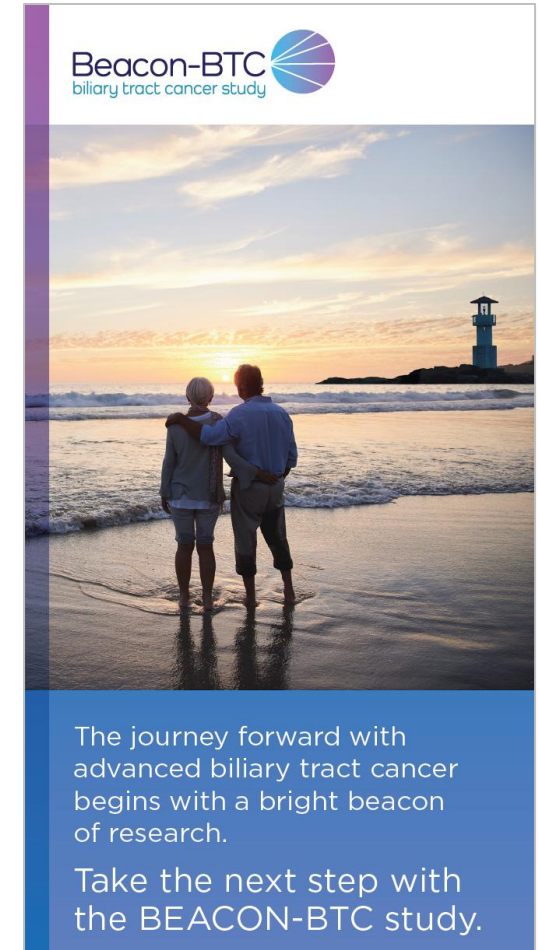
注：開発ステージにかかる記載は今後の開発予定を記載したイメージ図であり、実際は異なる可能性がある

ナンブランラト：グローバルフェーズ3 今年度の見通し

治験を確実に進捗させると同時に、透明性をもった対外的な発表を継続する

- 1 米国施設立ち上げ完了
- 2 Trials (BMC / Springer Nature が出版する査読付き雑誌) での、臨床試験プロトコルの発表
- 3 Journal of Gastrointestinal Cancer (Springer Nature が出版する査読付き雑誌) での、国内フェーズ2試験の全生存期間 (OS) サブグループ解析の発表
- 4 データモニタリング委員会による新規レジメンの安全性レビュー完了
- 5 2027年1月のASCO GI : Study-in-Progress セッションでの進捗発表

※様々な要因により、実際の結果は、これらの記述内容と大きく異なる可能性がある



Beacon-BTC
biliary tract cancer study

The journey forward with advanced biliary tract cancer begins with a bright beacon of research.

Take the next step with the BEACON-BTC study.

胆道がん1次療法を対象とする免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用療法 医師主導試験の進捗及び見通し

化合物	対象疾患		開発ステージ				
			基礎研究	非臨床試験	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
First-in-Class ナンブランラト (JPH203)	胆道がん 2次療法	単剤療法	[Progress bar]				グローバル
	胆道がん 1次療法	ICI併用療法	[Progress bar]				JP
	KRAS変異大腸がん		[Progress bar]				US
	希少疾患		[Progress bar]				
中枢神経系（脳） 移行型 JPH034	再発を伴わない 2次性進行型多発性硬化症		[Progress bar]				US
	グリオーマ		[Progress bar]				US
Best-in-Class (JPT-0008)	がん全般・自己免疫疾患・ 希少疾患		[Progress bar]				JP

注：開発ステージにかかる記載は今後の開発予定を記載したイメージ図であり、実際は異なる可能性がある

ナンブランラト：ICI併用医師主導試験 TOPICS

2026年5月、ICI併用を評価する医師主導試験開始

TOPICS

2026/4

PMDA 治験届審査完了

がん研究会有明病院主導の医師主導治験

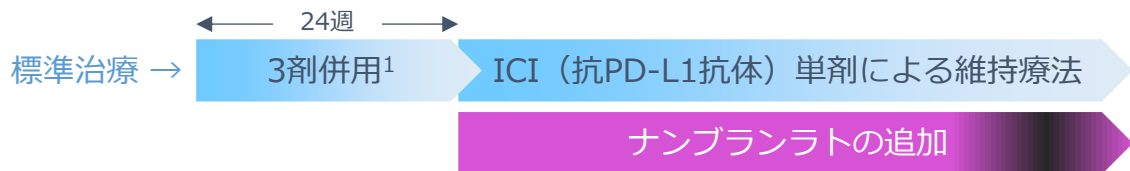
2026/4

国内の臨床研究等提出・公開システムjRCTに登録

<https://jrct.mhlw.go.jp/latest-detail/jRCT2031260086>

医師主導臨床試験の内容・目的

- 胆道がん1次治療における、抗PD-L1抗体単剤維持療法にナンブランラトを追加
- 維持療法中の、ICIとナンブランラトの相乗効果による効果向上を狙う



注：1：抗PD-L1抗体（デュルバルマブ）＋ゲムシタピン＋シスプラチン

出典：2：「jRCT（臨床研究等提出・公開システム）」（厚生労働省）（<https://jrct.mhlw.go.jp/latest-detail/jRCT2031260086>）掲載情報をもとに当社作成（閲覧日：2026年5月12日）



がん研究会有明病院ホームページ



研究の種別	医師主導治験
治験の区分	主たる治験と拡大治験のいずれにも該当しない
初回公表日	令和8年4月24日
最終公表日	令和8年4月28日
研究名称	切除不能・再発胆道癌に対するゲムシタピン＋シスプラチン＋デュルバルマブ併用療法の維持療法にナンブランラトを併用する第I相試験
統括管理者の氏名	尾坂 将人
統括管理者の所属機関	がん研究会有明病院
試験のフェーズ	1
対象疾患名	切除不能・再発胆道癌
進捗状況	募集中
医薬品等の一般名称	ナンブランラト

ジェイファーマホームページ

jRCT：臨床研究・治験計画情報の詳細情報²

ナンブランラト：ICI併用医師主導試験 今年度の見通し

1

患者登録開始

2

データモニタリング委員会による、新規レジメン及びICI併用療法の安全性レビューの完了

3

ICI併用療法の予備的な効果の評価

※様々な要因により、実際の結果は、これらの記述内容と大きく異なる可能性がある

JPH034の多発性硬化症を対象とする開発の進捗及び見通し

化合物	対象疾患		開発ステージ				
			基礎研究	非臨床試験	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
First-in-Class ナンブランラト (JPH203)	胆道がん 2次療法	単剤療法	→ グローバル				
	胆道がん 1次療法	ICI併用療法	→ JP				
	KRAS変異大腸がん		→ US				
	希少疾患		→				
中枢神経系（脳） 移行型 JPH034	3 再発を伴わない 2次性進行型多発性硬化症		→ US				
	グリオーマ		→ US				
Best-in-Class (JPT-0008)	がん全般・自己免疫疾患・ 希少疾患		→ JP				

注：開発ステージにかかる記載は今後の開発予定を記載したイメージ図であり、実際は異なる可能性がある

JPH034 : フェーズ1 TOPICS

海外研究開発パートナーと構築したエビデンスとAMED/NMSS支援を基盤に、JPH034は米国フェーズ1へ進展

TOPICS

2026/2

グローバル開発を意図した FDA IND（治験届）審査完了

- ・ 中枢領域で欧米基準のフェーズ1として、被験者72名（女性も含む）を対象
- ・ フェーズ2試験の概要もFDA相談済

2026/3

最初の被験者への投与を実施

2026/3

AMED「創薬ベンチャーエコシステム強化事業」支援企業初の新規上場

2026/4

ClinicalTrials.gov に登録

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07534657>

研究基盤・支援

- NINDS提唱の研究仮説を起点に研究を開始
- 米国Georgetown大学保有の用途特許の独占的通常実施権
- 同大学との共同研究で構築した非臨床エビデンス
- フィンランドTurku大学との委託臨床研究でヒトMS病巣でのLAT1の関与を実証
- AMED/National MS Society (NMSS) からの補助金

NINDS (NIHの構成組織の一つ)
米国国立神経疾患・脳卒中研究所

GEORGETOWN
UNIVERSITY

 Turku PET
CENTRE

日本医療研究開発機構 (AMED)

National MS Society

J-Pharma

AMEDウェブサイト当社に関する記事が掲載されました

2026年3月27日
ジェイファーマ株式会社

AMEDウェブサイト当社に関する記事が掲載されました

創薬ベンチャーエコシステム強化事業で支援した創薬ベンチャー初の新規上場—東京証券取引所グロース市場でのIPO達成—

ジェイファーマ株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：吉武益広、証券コード：520A、以下「当社」）は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）のウェブサイトにおいて、当社に関する記事が掲載されたことをお知らせいたします。

ジェイファーマホームページ

JPH034 : 開発・事業化の今年度の見通し

1

過去7年間の、NINDS、Georgetown大学、Turku大学との共同研究を通じ構築した臨床・非臨床エビデンスの、Nature系誌あるいは Science Translational Medicineでの発表

2

フェーズ1の完了

3

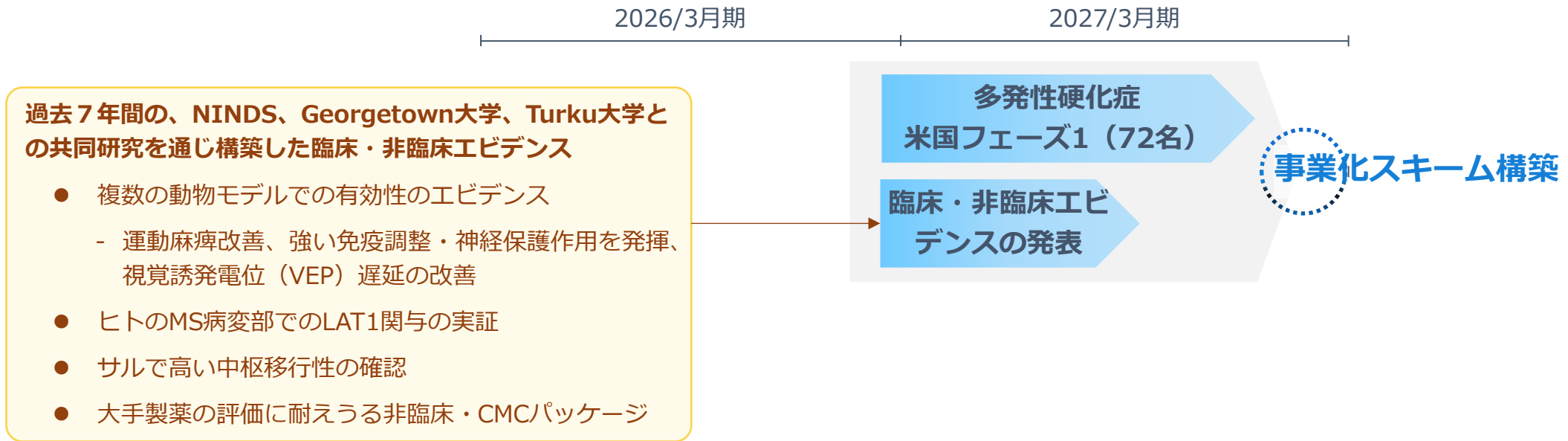
事業化スキームの発表
(「事業化について」のセクションで詳細説明)

※様々な要因により、実際の結果は、これらの記述内容と大きく異なる可能性がある

Agenda

- 会社概要
- **直近のTopicsと2027年3月期の見込み**
 - 開発の進捗と見込み
 - **事業化について**
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- 事業のリスク

JPH034は、欧米でのフェーズ2 ready になる段階（蓄積してきたエビデンスとフェーズ1のデータ）で今年度の事業化スキームの構築を目指す



欧州バイオテック企業との協議開始

NDA下で開発・事業計画、アライアンススキームについて協議中

複数の製薬・バイオテック企業との協議

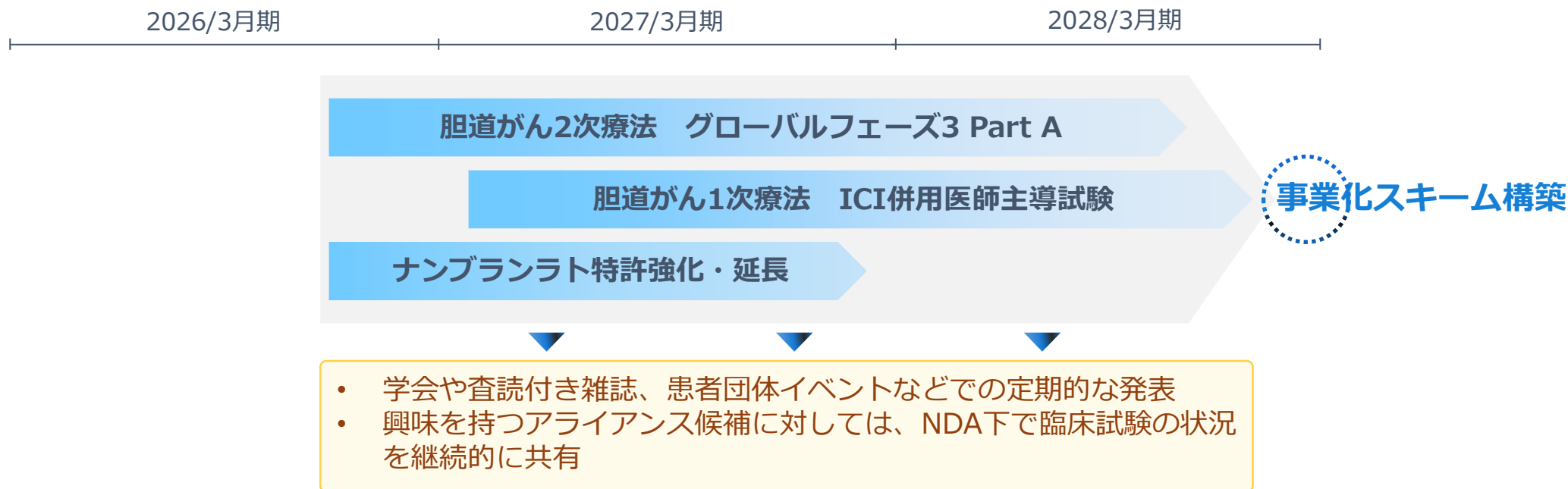
関心を示す企業と継続的に協議中

その他の事業化スキームの検討

米国でのCNSの開発に特化した子会社を設立し、資金調達を行う案についても、投資家等と協議

※開発や契約締結の時期等については、現時点において当社が想定する時期を目安として示したものであり、実際にはこれと異なる可能性がある
※パートナー候補等との交渉により、ライセンス契約ではなく共同開発や、出資など、開発を進めるための別の契約体系になる可能性も考えられる
※ライセンス契約の成否や規模は臨床試験結果に依存し、試験結果によっては望ましい契約内容に至らない可能性がある

ナンブランラトは、3つのプロジェクトで価値を高め、2028年3月期の事業化スキームの構築を目指す



一部企業とNDA下で協議開始

一部の海外企業とは、NDA下で臨床試験の状況を共有し、提携スキームの協議を開始

アライアンス候補先の選択肢拡張

フェーズ3開始以降、頻繁にアライアンスの問い合わせあり：データを共有しながら信頼関係を構築

その他の事業化スキームの検討

補助金、ロイヤルティ型ファイナンス等の活用も検討

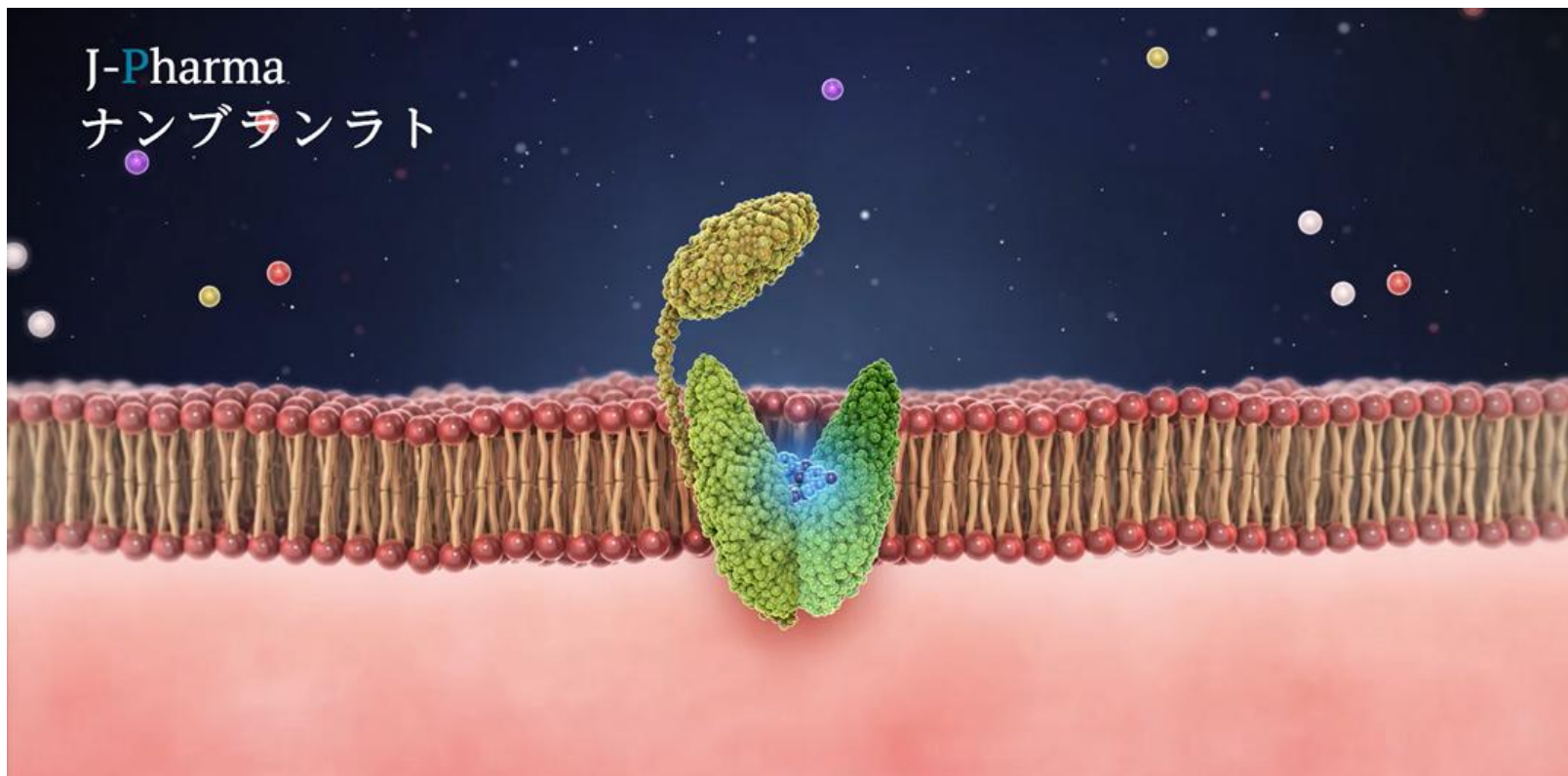
※開発や契約締結の時期等については、現時点において当社が想定する時期を目安として示したものであり、実際にはこれと異なる可能性がある
※パートナー候補等との交渉により、ライセンス契約ではなく共同開発や、出資など、開発を進めるための別の契約体系になる可能性も考えられる
※ライセンス契約の成否や規模は臨床試験結果に依存し、試験結果によっては望ましい契約内容に至らない可能性がある

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- **サイエンス／テクノロジー**
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- 事業のリスク

作用機序動画

画像またはURLをクリックするとブラウザが立ち上がり動画が再生されます
音声が出ますのでご注意ください。



<https://www.j-pharma.com/assets/video/251209.mp4>

SLCトランスポーターとLAT1

LAT1（L型アミノ酸トランスポーター1）阻害による新たな治療アプローチ

SLCトランスポーターとLAT1（L型アミノ酸トランスポーター1）

400のうち、13種類のみが、
FDA承認薬の標的^{3,4}

13

400種類以上²の
SLCトランスポーター

当社は、400の中の1つである
LAT1に注目

1

SLCトランスポーター：

- 様々な細胞の表面に発現し、栄養素・薬物・代謝産物などを輸送する膜タンパク質¹
- がん、代謝・神経・腎疾患など多くの疾患と関与²
- 次世代の創薬が加速すると見込まれる²

LAT1（L型アミノ酸トランスポーター1）：

- 当社創業者・遠藤仁（現・杏林大学名誉教授）が同定
- がん細胞はLAT1を介し必須アミノ酸を取り込み増殖⁵
- そのため、LAT1阻害はがん治療の新たな戦略となり得る^{6,7}
- 自己免疫疾患への関与も報告されており、それらに対する新たな治療戦略ともなり得る⁸

出典：1. Hum Genet., 2019, 138, 1359-1377. 2. Front. Pharmacol., 2025, 15:1510080. 3. Cell. 2015, 162, 478-487. 4. Cortellis Drug Discovery Intelligence. 5. Int J Mol Sci., 2018, 19, 2373. 6. Molecular Cell. 2020, 80, 384-395. 7. Int J Mol Sci., 2020, 21, 6156. 8. 当資料の55ページ目を参照

ジェイファーマとLAT1

LAT1阻害剤開発のトップランナーとして世界中の研究機関の注目を浴びる

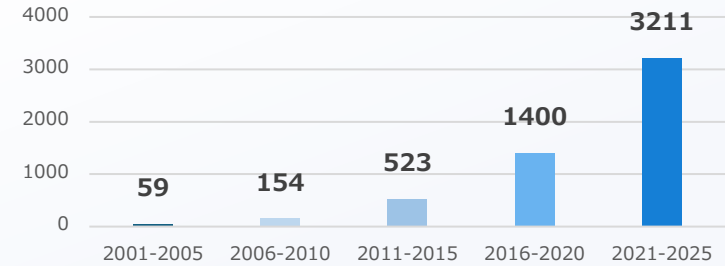
J-Pharma

LAT1阻害剤開発のトップランナー

- LAT1遺伝子特許により20年間（1998-2019）独占的に開発
- 2026年6月時点で、世界で唯一LAT1阻害剤の臨床試験を実施¹
- 国内大規模フェーズ2で主要評価項目を達成し、POC取得
- グローバルフェーズ3開始

世界で高まるLAT1への関心

PubMed Central 検索結果：“LAT1”を含む論文数推移



世界中の多くの研究機関より、ジェイファーマへの共同研究・開発の打診

国内医師主導治験
（胆道がん1次療法ICIと
LAT1阻害剤の併用療法）

Georgetown大学
米国・日本の補助金²
（多発性硬化症）

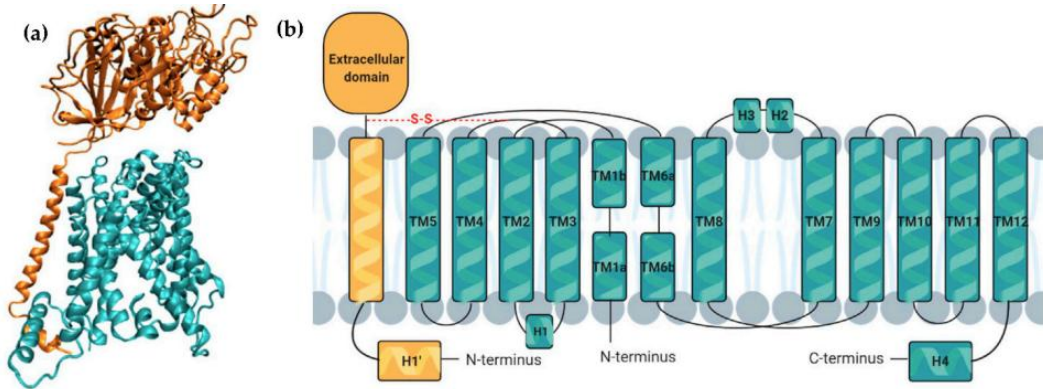
出所：1. 当社調べ
注：2. 全米多発性硬化症協会（National MS Society）、日本医療研究開発機構（AMED）

がん治療薬としてのLAT1阻害剤の可能性

胆道がんで、First-in-Classの薬剤に

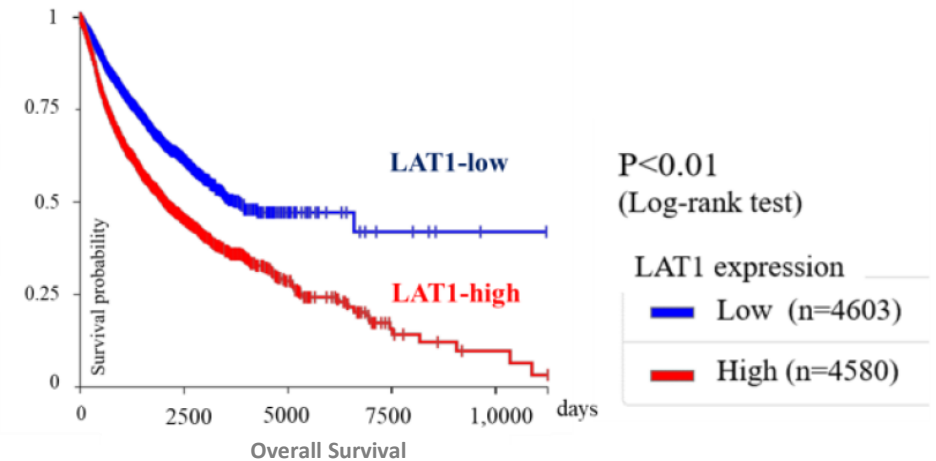
- LAT1はSLCトランスポータースーパーファミリーのひとつで、**がん細胞の成長と増殖に不可欠な大型中性アミノ酸を輸送する**¹
- 細胞が、がん化したり急速に増殖し始めると、**細胞膜上のLAT1の発現が亢進し、その結果、アミノ酸の摂取量が増加し細胞は爆発的に増殖する**²
- LAT1の発現は、リンパ節転移、細胞増殖、血管新生、および生存期間の短縮と密接に関連している³
- LAT1は胆道がん⁴、膵臓がん^{5,6}、脳腫瘍^{7,8}といった多くの固形がんで過剰発現している

LAT1⁹



LAT1の構造； (a) LAT1-4F2hc複合体の図。4F2hcはオレンジ、LAT1は青色（PDB 6IRT）
(b) LAT1トランスポーターの膜トポロジー

全生存期間とLAT1遺伝子発現¹⁰

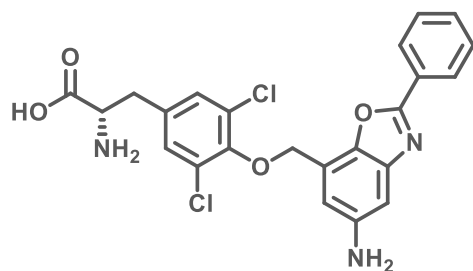


出典：1. Intractable Rare Dis Res., 2015, 4, 165-169. 2. Int J Mol Sci., 2018, 19, 2373. 3. Front Chem., 2020, 8, 564809. 4. Parasitol Int., 2017, 66, 471-478. 5. Br J Cancer., 2012, 107, 632-638. 6. J Clin Pathol., 2012, 65, 1019-1023. 7. BMC Clin Pathol., 2012, 12, Article number 4. 8. Int J Cancer., 2006, 119, 484-492. 9. C. Lopes et al., "ASCT2 and LAT1 Contribution to the Hallmarks of Cancer: From a Molecular Perspective to Clinical Translation" Cancers (Basel), 2021, 13, 203. Licensed under CC BY 4.0 (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). 10. R. Otani, et al., "The Anti-Tumor Effect of the Newly Developed LAT1 Inhibitor JPH203 in Colorectal Carcinoma, According to a Comprehensive Analysis" Cancers 2023, 15, 1383. Licensed under CC BY 4.0 (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>).

ナンブランラトによるLAT1阻害作用

LAT1に特異的に結合し、アミノ酸の取り込みを阻害

ナンブランラト (JPH203)



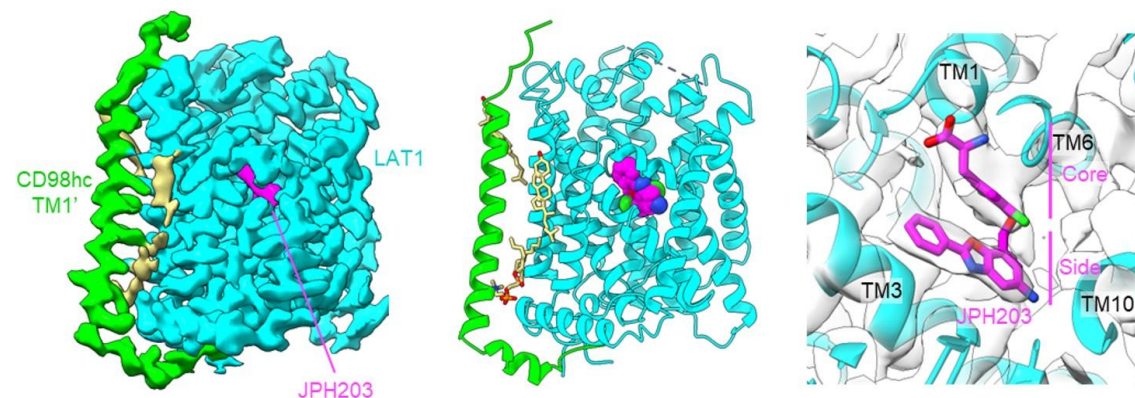
ナンブランラトは、正常な細胞に発現するLAT2には作用せず、LAT1を選択的に阻害する¹

LAT1とLAT2に対するIC₅₀*値の比較

Compound	LAT1 (nM)	LAT2 (nM)
ナンブランラト (JPH203)	42	>100,000

*IC₅₀: 標的活性を50%阻害するのに必要な濃度を示す指標

クライオ電子顕微鏡 (cryo-EM) 構造解析² ナンブランラトがLAT1に競合的に結合する様子

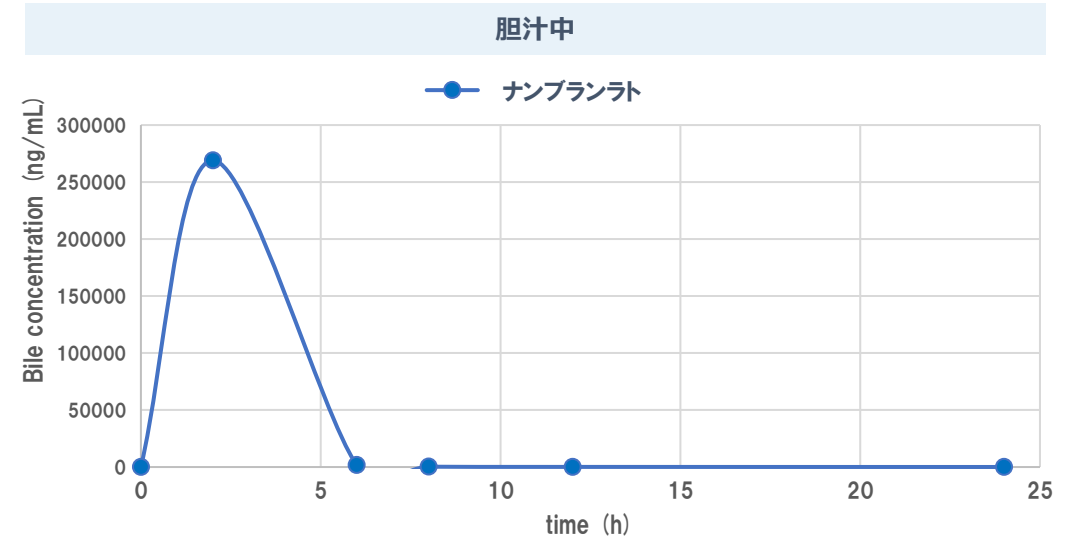
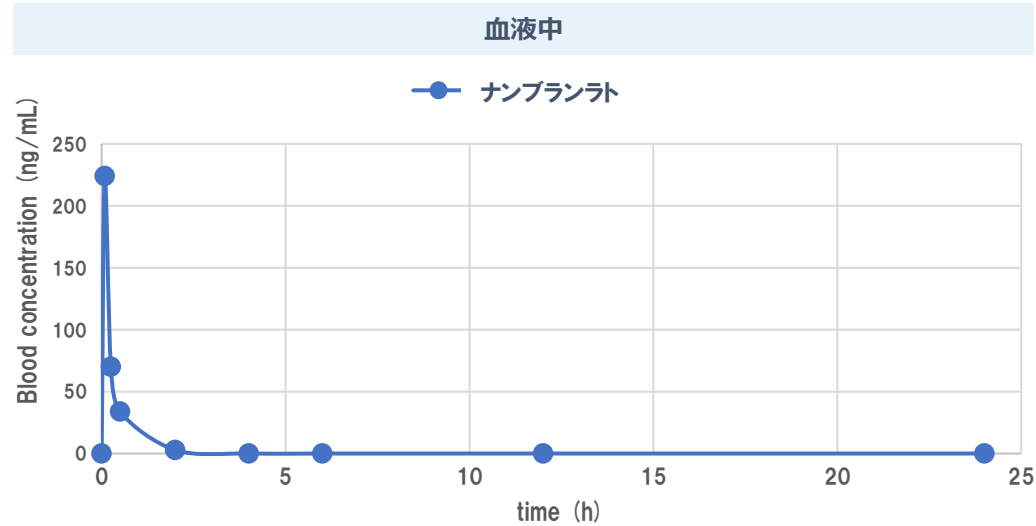


ナンブランラトは、LAT1の内部のアミノ酸ポケットに競合的に結合することで、LAT1によるアミノ酸の輸送をブロックする

ナンブランラトのユニークな組織分布

胆汁中に高濃度に分布することにより、臓器選択的に有効性を示す

サルにおけるナンブランラトの薬物濃度¹



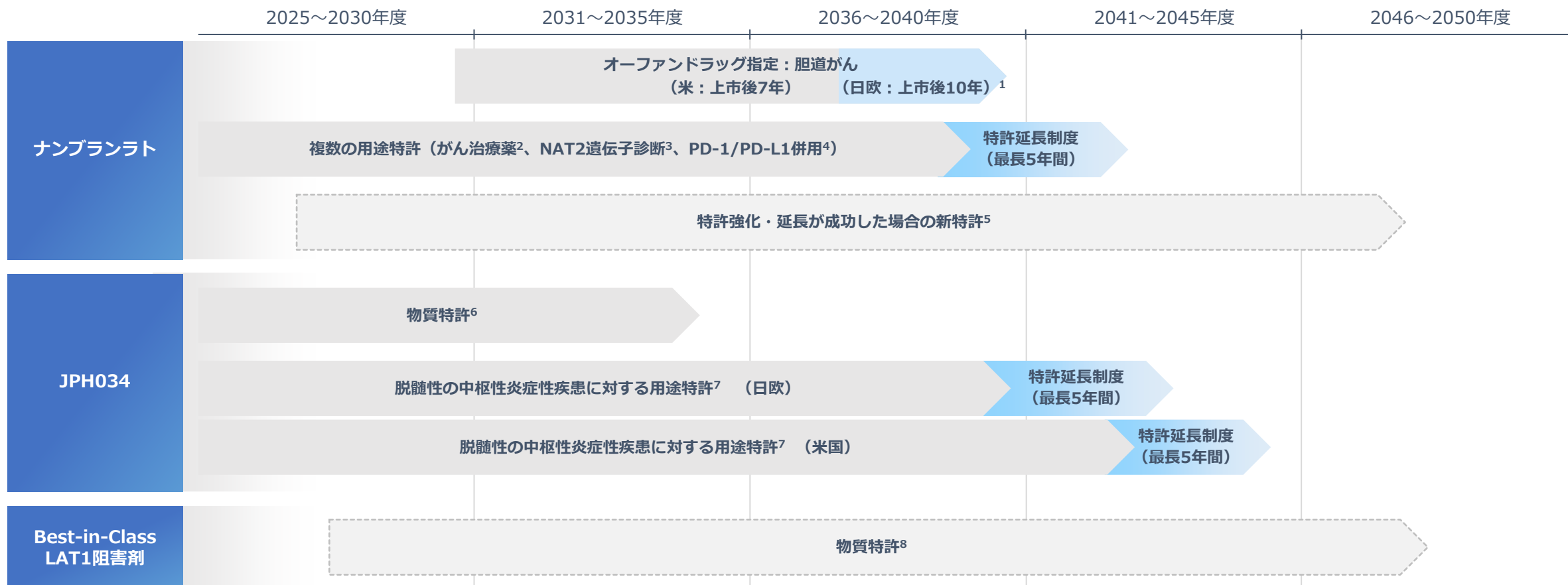
試験サンプル	Cmax		AUC	
	(ng/mL)	胆汁/血漿	(h*ng/mL)	胆汁/血漿
血漿	400.56 (C ₀)	-	91.95	-
胆汁	269,000 (2h)	672	815,074	8,864

- 胆汁中のナンブランラトのCmaxおよびAUCは、それぞれ血漿中の600倍および8,000倍以上

特許およびオーファンドラッグ指定による事業の独占

複数の特許により長期間にわたる開発化合物の独占の実現を目指す

年度：4月—3月



注：特許の詳細については、有価証券届出書等に掲載の重要特許一覧を参照。本図は今後の特許及びオーファンドラッグ指定の取得に関する当社の戦略及び当社による一定の仮定に基づく特許の有効期間等を示したイメージ図であり、実際とは異なる可能性がある。
 注：1. 2030年度に胆道がん承認を得たと仮定した場合 2. ナンبرانラトをがん治療薬として用いる用途特許（日米欧など主要国で成立済）：2038年8月まで有効 3. NAT2遺伝子診断をコンパニオン診断薬として組み合わせる添付文書特許（日で成立済、欧米は審査中）：2040年8月まで有効 4. ナンبرانラトと抗PD-1/PD-L1抗体との併用特許（日米欧など主要国で成立済）：日欧は2038年11月まで、米は2040年5月まで有効 5. 2026年度に特許申請し成立すると仮定した場合（詳細は当資料P75を参照） 6. JPH034の物質特許（日米欧で成立済）：2034年1月まで有効 7. 脱髄性の中枢性炎症性疾患に対する、LAT1阻害剤全体をカバーする用途特許（日米欧で成立済）：日欧は2039年10月まで、米は2042年12月まで有効 8. 2027年度に特許申請し成立すると仮定した場合（詳細は当資料P74を参照）

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- **主要パイプライン**
 - **胆道がん**
 - 再発を伴わない2次性進行型多発性硬化症
- 事業の成長性
- 事業のリスク

ナンブランラトの臨床開発をリードする主要な医師のコメント



Dr. Ghassan K. Abou-Alfa, MD, JD, MBA, PhD

- Memorial Sloan Kettering Cancer Center, Professor of Medicine
- 胆道がんにおいて複数の医薬品のグローバル承認に繋がる臨床試験を主導¹

ナンブランラト・グローバル第3相試験の
治験総括医師、Steering Committee 委員長

胆道がんにおける確立された2次治療は、特定の遺伝子変異を有する患者に限られており、その対象は多くても全体の20%を超えません。そのため新たな治療アプローチの開発が強く求められています。LAT1 (SLC7A5) は、転移および不良な予後と密接に関連する標的分子です。ナンブランラトはLAT1選択的阻害剤であり、胆道がんの前臨床モデルにおいてその有効性が示されているほか、第2相臨床試験においてもPFSの顕著な改善およびOSのハザード比において良好な結果が示されています。このような背景から、提案されている第3相臨床試験の実施は極めて重要であり、私たち Memorial Sloan Kettering は本試験に貢献し、グローバルに主導的な役割を果たすことを期待しています。



古瀬純司, M.D., Ph.D.

- 神奈川県立がんセンター総長
- 国内において複数の胆道がんの第3相試験を統括し、エビデンス構築、啓蒙を主導²

ナンブランラト国内第1相、第2相治験調整医師
現当社アドバイザー

胆道がんは5年生存率が25%程度と極めて予後不良のがん腫であり、日本では年間約17,000名が胆道がんによって亡くなっています。胆道がん患者さんの予後の改善には有効な2次治療の確立が必須であり、国際的な課題です。ナンブランラトはがん細胞に特有のアミノ酸トランスポーター (LAT-1) を標的とした新しい薬剤であり、日本で行った臨床試験で胆道がんの有効性が示唆されています。また副作用も極めて少ないことから、胆道がんの2次治療に最適な薬剤と考え、現在米国で次のステップの臨床試験が行われています。日本でもJ-Pharmaさんの協力を得て、ナンブランラトの持続点滴の安全性と免疫チェックポイント阻害薬との併用を試す医師主導治験の計画が進んでいます。我々日本人医師や米国をはじめとした海外の医師が協力してこれらの取り組みを進めることで、世界中の胆道がん患者さんにナンブランラトが一日でも早く届けられることを期待しています。



Dr. Eric Rowinsky, M.D.

- Cancer Therapeutic Development and Regulatory Consultant
- バイオテック企業において5剤(12適応症以上)の承認申請を主導³

ナンブランラト・グローバル第3相試験の
プロトコル設計を担当、現当社アドバイザー

J-Pharmaは、その多くが同社および共同研究者によって解明されてきたLAT1トランスポーターの科学的知見を信じ、勇気をもって追究してきました。LAT1の重要性は、正常組織の機能における多様な役割や、がんや多発性硬化症などの疾患の病態における関与に反映されています。J-PharmaはLAT1の重要性をいち早く認識し、この標的を選択的かつ強力に阻害するナンブランラトを創製しました。さらに重要なことに、J-Pharmaはナンブランラトの主要な適応症として胆道がんを特定し、その判断は正しかったことが示されています。無作為化第2相臨床試験において主要評価項目を達成し、現在は承認取得を目指したピボタル第3相臨床試験の基盤となっています。これらの大胆な取り組みにより、胆道がんに対する新規治療薬が誕生することを期待しています。

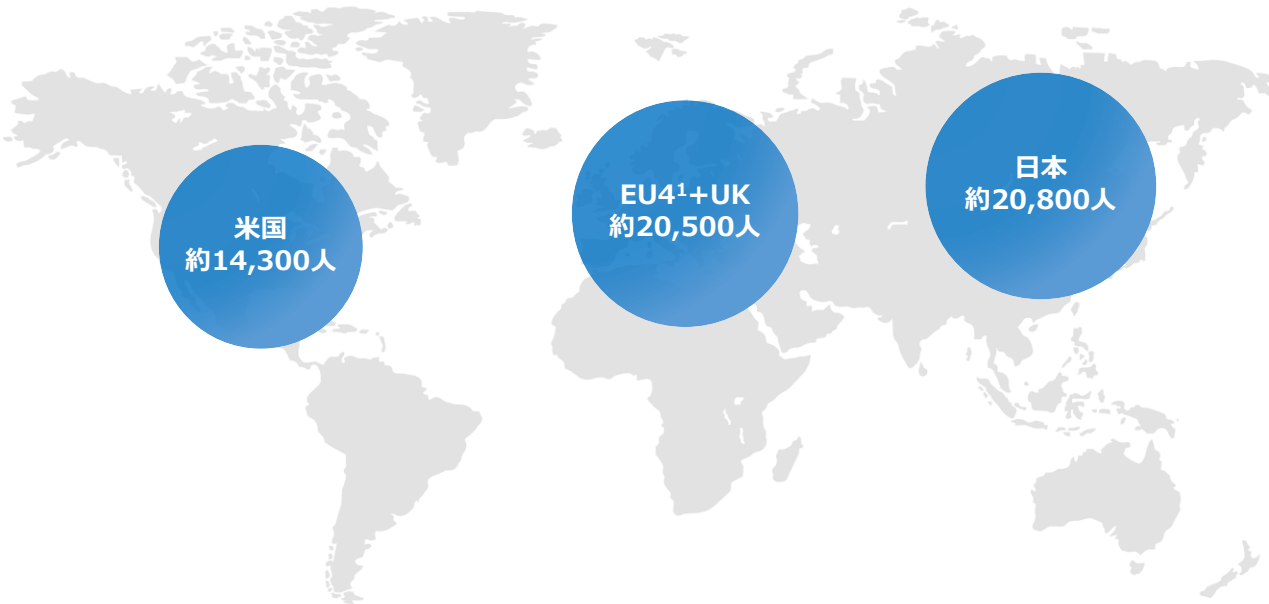
出所:

1. 例: Abou-Alfa GK, et al. JAMA Oncology. 2020;6(9):e201235. Abou-Alfa GK, et al. Lancet Oncology. 2020;21(5):671-684. Abou-Alfa GK, et al. Lancet Gastroenterology & Hepatology. 2021;6(10):803-815. 他
2. 例: JCOG1113統括報告書、Morizane C, et al. Japanese Journal of Clinical Oncology. 2025;55(3):210-218. 古瀬純司「胆道癌に対する化学療法: 現状と今後の展望」日本胆道学会誌、他
3. 例: Uniphar Development corporate website (<https://rrdbiotech.com/our-team/> 閲覧日 2026年2月18日)、他

世界の胆道がん年間新規患者数と5年相対生存率

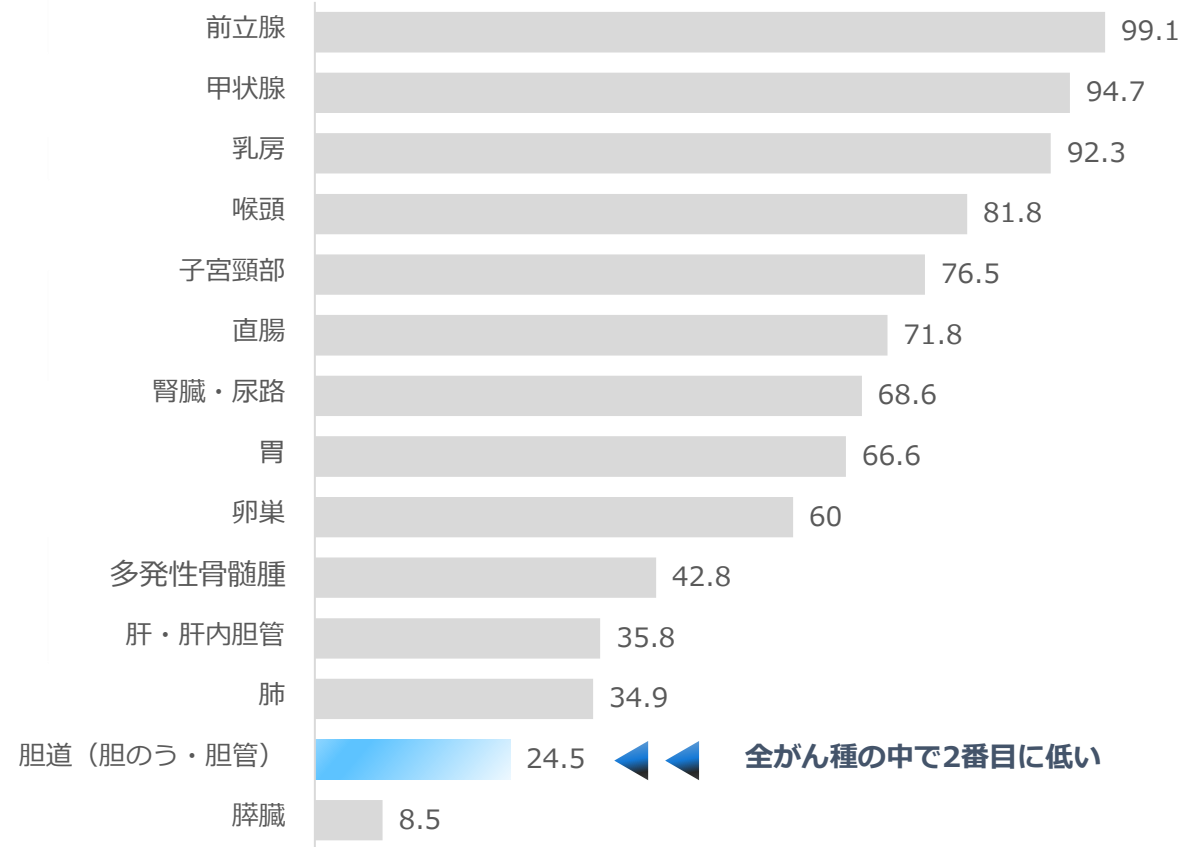
胆道がんは治療予後が極めて悪い

主要国の胆道がん年間新規患者数



出所：
 - 米国：Bureau, United States Census. 2023. QuickFacts United States. [Online] July 1, 2023. Epidemiologic patterns of biliary tract cancer in the United States: 2001–2015. Jill Koshiol+4. 2022. 2022. National Library of Medicineを元に当社試算
 - EU4+UK：What is bile duct cancer?. Cancer Research UK. Gallbladder cancer statistics, Cancer Research UK. Ampullary cancer, Cancer Research UK. The World Bank, DataBank, Population estimates and projections. Liver cancer, Label Logo Zentrum für Krebsregisterdaten. Cancer in gallbladder and biliary tract. Label Logo Zentrum für Krebsregisterdaten. Walter D, Schnitzbauer AA, Schulze F, Trojan J: The diagnosis and treatment of ampullary carcinoma. Dtsch Arztebl Int 2023; 120: 729–35. Population factsheets, Cancer Today, International Agency for Research on Cancer. The World Bank, DataBank, Population estimates and projections. を元に当社試算
 - 日本：Cancer Statistics 2016-2019. Cancer Information Service, National Cancer Center, Japan. Ishihara et al., Biliary tract cancer registry in Japan from 2008 to 2013. J Hepatobiliary Pancreat Sci. 2016 Mar;23(3):149-57を元に当社試算
 注：1. フランス・ドイツ・イタリア・スペイン

がん種別5年相対生存率

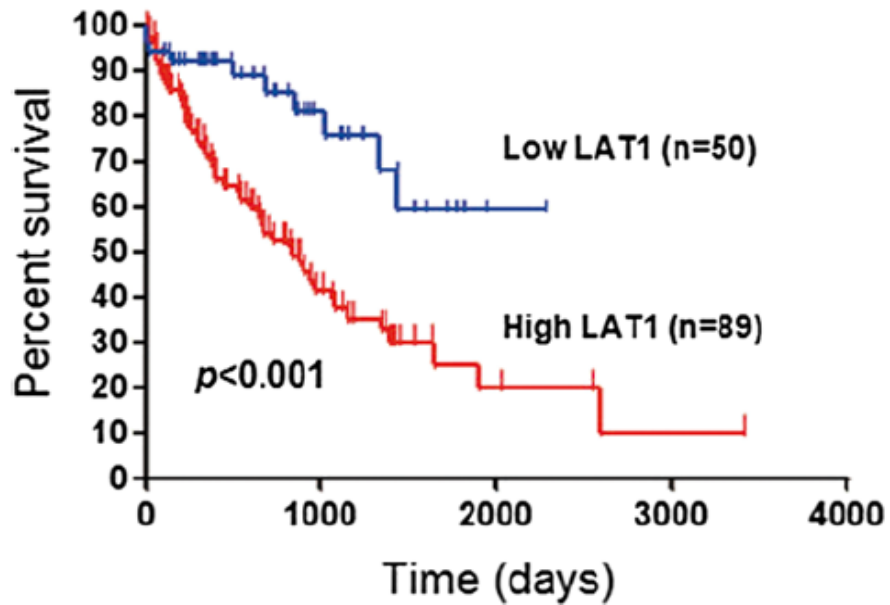


出所：公益財団法人がん研究振興財団 がんの統計2023、National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Programを元に当社作成

LAT1発現と胆道がん患者の全生存期間（OS）の関連

LAT1は胆道がんの治療標的としての高い可能性が示唆される

胆道がんにおける全生存期間（OS）比較（LAT1高発現 vs. LAT1低発現）¹



胆道がんにおいて、LAT1高発現群（n=89）と低発現群（n=50）の生存曲線を比較

➔ 全生存期間（OS）は高発現群で有意に短い（ $p < 0.001$ ）



● LAT1の高発現は、不良な予後を示唆する要因であり、また新たな分子標的治療の候補として注目される^{2,3}

出典：1. K, Kaira et al. "Clinical significance of L-type amino acid transporter 1 expression as a prognostic marker and potential of new targeting therapy in biliary tract cancer," BMC Cancer, 2013, 13:482. Licensed under CC BY 2.0 (<http://creativecommons.org/licenses/by/2.0>) 2. Cancer Med., 2014, 3, 1246-1255. 3. Parasitol Int., 2017, 66, 471-478.

2026年3月時点で東証グロースに上場している創薬ベンチャーのうち、日本で自ら創製した化合物のデータを積み重ねてグローバルフェーズ3まで進めている唯一の事例（当社調べ）

承認まで
至る確率¹

12%

22%

64%

国内フェーズ1
(2015~2017)

胆道がん、大腸がん
への一定の効果を
確認

国内フェーズ2
(2018~2022)

胆道がん2次療法を対象に
100名以上を組み入れた
大規模試験で効果を実証

プラセボと変わらない
安全性を確認

ASCO GI 2023, ASCO
Annual Meeting: 口頭発表
Clinical Cancer Research 掲載

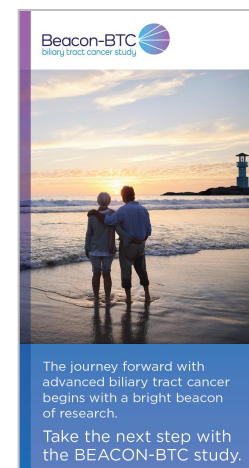
米国FDA対話
(2023~2024)

米国の患者層に合わせた
フェーズ2データ再解析で
延命効果を確認

とくに、投与期間が長い程、
延命に繋がることを確認

ESMO 2025: ポスター発表

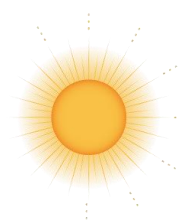
グローバルフェーズ3
(2025~)



承認（計画）

日本発のブロックバ
スター製品（売上> 10億米
ドル）を目指す

「副作用が少なく、太陽のように患者に寄り添う抗がん剤」
のコンセプトどおり、安全で長く治療できることで、延命に繋がる可能性



※本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性がある

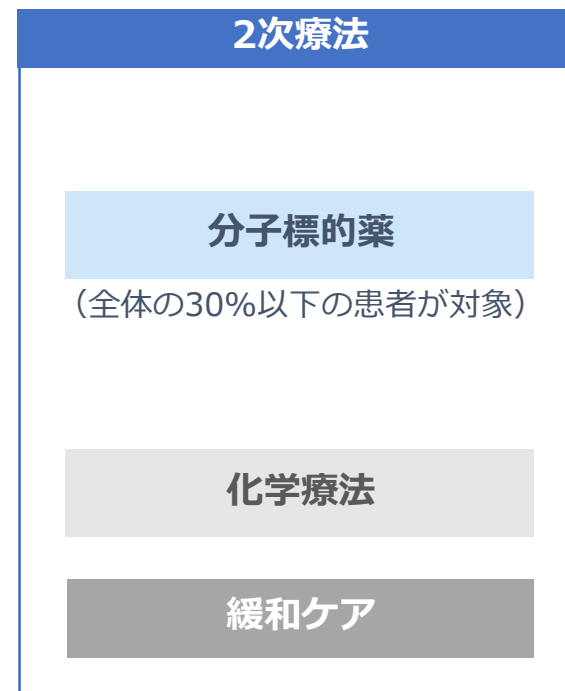
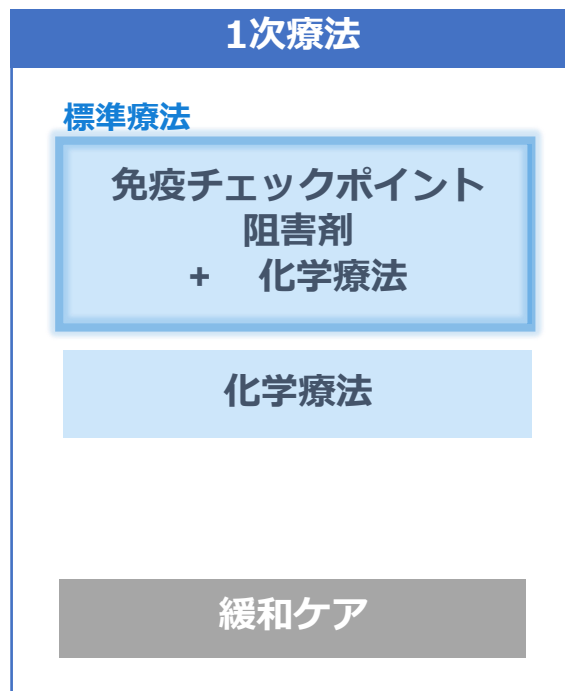
出所：1. 経済産業省/厚生労働省「創薬ベンチャーの育成」2021

欧米における、胆道がん治療の現状と課題

早期の治療ライン（1次・2次療法）にアンメットニーズがある

米国FDAからの要請に応じて、米国6万例の保険データから解析した
胆道がんの薬物治療の流れ

転移性/切除不能
胆道がん患者



承認薬

非承認薬

課題：

標準療法において、24か月生存するのは25%以下であり、
いまだアンメットニーズが高い

患者全体の30%程度にしか承認薬がなく、
大半の患者は緩和ケアもしくは非承認薬に頼る（欧米の状況）*

*: 日本では標準治療としてS-1（テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム（Tegafur/Gimeracil/Oteracil）を有効成分とする経口の抗悪性腫瘍剤）が承認されている

ナンブランラトの国内大規模フェーズ2結果

重篤な患者での有効性と安全性を実証

UMIN000034080

標準的治療法が無効あるいは不耐の状態
にある進行性の胆道がん患者

無作為割付
2:1

ナンブランラト 25mg/m² 静注
サイクル：5日間連続投与、9日間休薬
N = 69

プラセボ静注
サイクル：上記と同じ
N = 35

主要評価項目：

PFS（無増悪生存期間）
（盲検下独立中央画像評価*）

副次評価項目：

DCR（病勢コントロール率）
OS（全生存期間）

* 統計的前提：
 $\alpha = 0.025$ （片側）、 $\beta = 90\%$

試験結果

- ナンブランラトは主要評価項目を達成し、プラセボに対して**統計的有意にPFSを改善**（ハザード比=0.56、95%信頼区間:0.34–0.90、 $p=0.02$ ）¹
- **良好な安全性を確認**（薬物有害反応（副作用）の発生率：ナンブランラト群41.4%、プラセボ群57.1% グレード3以上の有害事象：ナンブランラト群30.0%、プラセボ群22.9%）¹
- 治療薬がほとんどない胆道がん2次療法以降で効果を示したことは**国際的に高い評価を受け、米国臨床腫瘍学会消化器がんシンポジウム（ASCO GI 2023）および米国臨床腫瘍学会年次総会（2023 ASCO Annual meeting）にて、口頭発表**
 - 提出される要旨のうち**口頭発表に選ばれるのは、数%に限られるが**、2回連続して口頭発表に採択されたことは国際的な高い評価の裏付けとなる
- 当結果は、**Clinical Cancer Research** にも掲載

出典：1. Furuse, Junji et al. "A Phase II Placebo-Controlled Study of the Effect and Safety of Nanvuranlat in Patients with Advanced Biliary Tract Cancers Previously Treated by Systemic Chemotherapy." *Clinical cancer research : an official journal of the American Association for Cancer Research* vol. 30,18 (2024): 3990-3995. doi:10.1158/1078-0432.CCR-24-0461

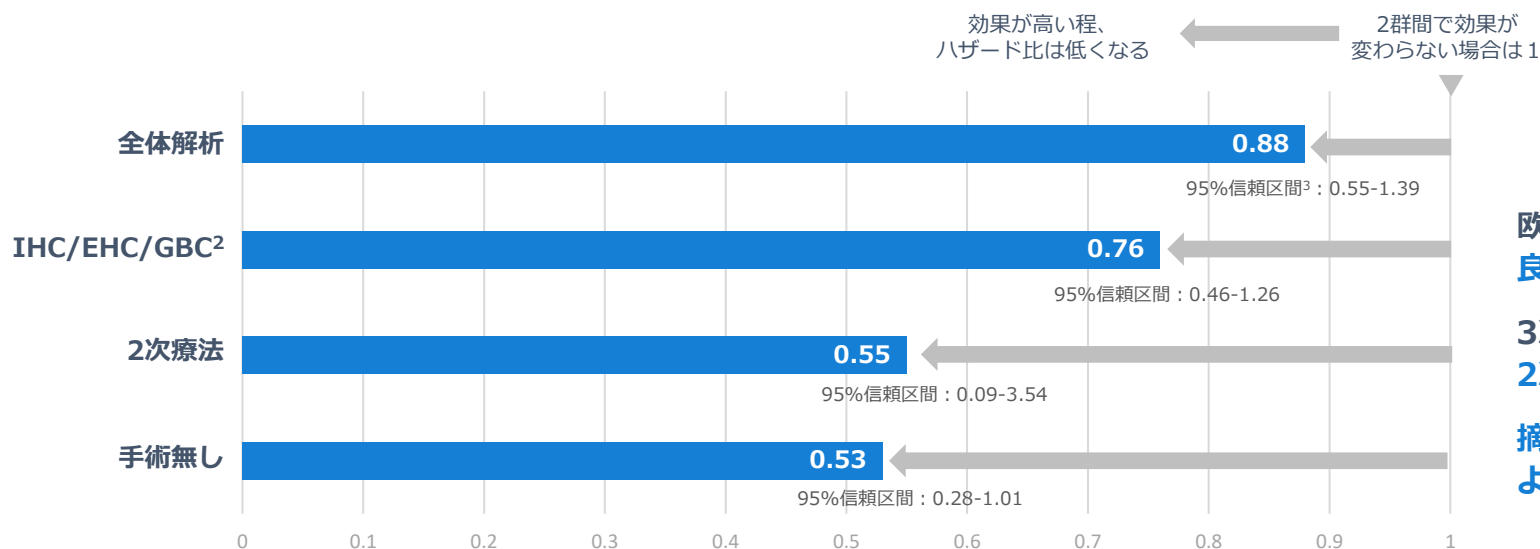
フェーズ2試験：OSサブグループ解析

サブグループにおいて有望なOSへの効果を確認

ハザード比

ある時点において、まだイベント（この場合は死亡）が起きていない患者が、その直後にイベントを起こす発生率の比率を表す
例えば、ハザード比が0.5であれば、A群に比べてB群は、同じ時点においてイベントが起こる発生率が半分であることを意味する
2群間の効果の差を表す指標として、代表的に使用される

フェーズ2 OSハザード比¹



欧米では胆道がんに含まれないAVC²を除外するとより良好な結果

3次療法以降を除外し
2次療法に限定するとより良好な結果

摘出手術を受けていない患者群に限定するとより良好な結果

出典：1. ESMO 2025. 98P - Subgroup analysis of a Ph.2 study of nanvuranlat in pre-treated, advanced, refractory biliary tract cancer patients (BTC) support an enriched patient population for a planned Ph.3 study.

注：2. IHC: 肝内胆管がん, EHC: 肝外胆管がん, GBC: 胆嚢がん, AVC: 十二指腸乳頭部がん 3. 95%信頼区間は「真の値がその区間内に含まれる確率が95%であると推定される範囲」

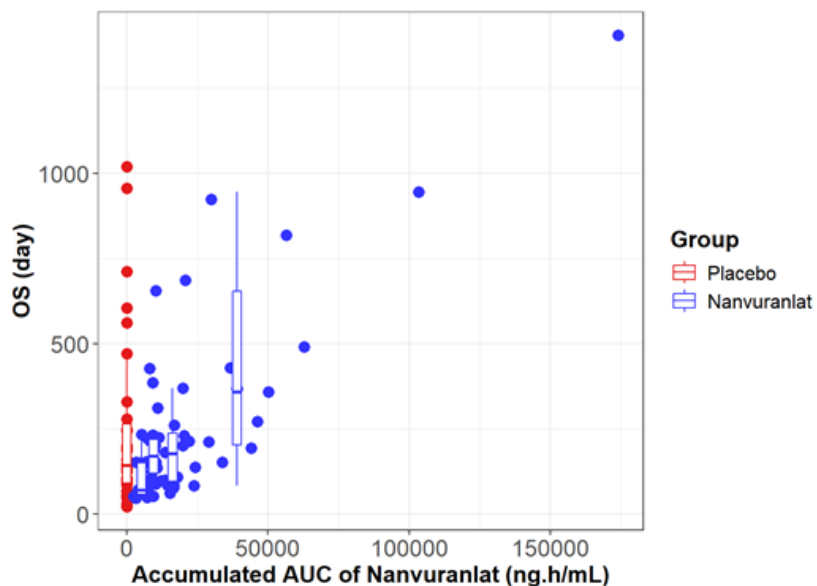
フェーズ2試験：曝露-反応解析

ナンブランラトの曝露量が多いほど、より良好な結果に繋がる

曝露-反応解析

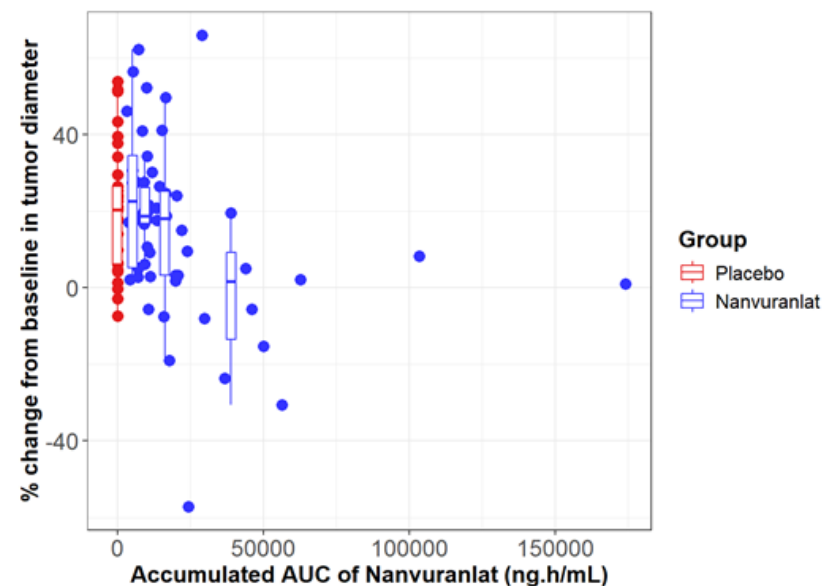
医薬品の体内曝露量と有効性や安全性の関係を評価する解析手法

ナンブランラトの曝露-反応解析①（フェーズ2データ）¹
累積曝露量（Accumulated AUC）とOSの関係



累積曝露量（Accumulated AUC）とOSの間に
正の相関が認められた

ナンブランラトの曝露-反応解析②（フェーズ2データ）¹
累積曝露量（Accumulated AUC）と腫瘍径変化率の関係



累積曝露量（Accumulated AUC）が大きい程、
腫瘍縮小の傾向が見られた

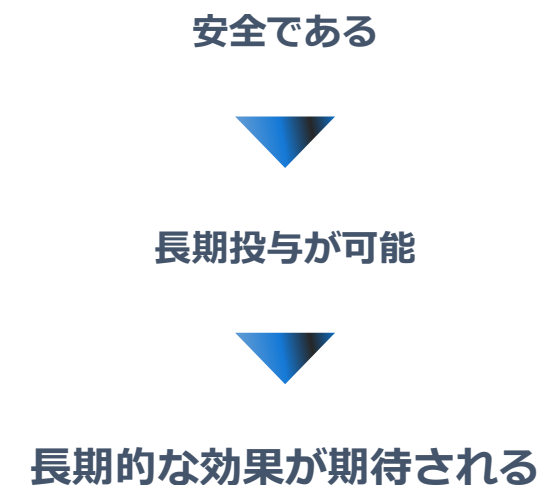
出典：1. M. Ueno et al., ESMO 2025. 98P - Subgroup analysis of a Ph.2 study of nanvuranlat in pre-treated, advanced, refractory biliary tract cancer patients (BTC) support an enriched patient population for a planned Ph.3 study.

ナンブランラトの安全性

安全性が高く、長期的な治療や、現在緩和ケアを選択している患者群への市場拡大の可能性

胆道がん治療薬（治療法）別有害事象比較（治療後に発生したすべての有害事象）

有害事象 \ 治療法	ナンブランラト	FOLFOX	デュルバルマブ + シスプラチン/ ゲムシタビン	イボシデニブ	ペミガチニブ	フチバチニブ
全グレード有害事象	86%	99%	99%	98%	100%	100%
重篤な有害事象	21%	N.A.	47%	30%	45%	N.A.
グレード3以上の有害事象	30%	69%	76%	50%	67%	77%
神経障害	0%	69%	0%	0%	0%	0%
好中球減少症	0%	28%	32%	0%	0%	0%
貧血症	4%	14%	48%	15%	15%	16%
高リン血症	0%	0%	0%	0%	56%	85%
網膜障害	0%	0%	0%	0%	0%	8%
眼乾燥（ドライアイ）	0%	0%	0%	0%	35%	21%
QTc延長	1%	0%	0%	9%	0%	0%
AST値上昇	3%	0%	0%	11%	8%	25%
ALT値上昇	0%	0%	0%	8%	11%	17%



青字：他剤に比べて割合が高いもの¹

出所：

nanvuranlat: Phase 2 CSR

FOLFOX: Lancet Oncol 2021; 22: Second line FOLFOX chemotherapy versus active symptom control for advanced biliary tract cancer (ABC-06): a phase 3, open-label, randomized, controlled trial.

デュルバルマブ + シスプラチン/ゲムシタビン (TOPAZ-1): NEJM Evid 2022; 1 (8): Durvalumab plus Gemcitabine and Cisplatin in Advanced Biliary Tract Cancer

イボシデニブ: JAMA Oncol. 2021;7(11): Final Overall Survival Efficacy Results of Ivosidenib for Patients With Advanced Cholangiocarcinoma With IDH1 Mutation. The Phase 3 Randomized Clinical ClarIDHy Trial

ペミガチニブ: Lancet Oncology 2020; 21: Pemigatinib for previously treated, locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma: a multicenter, open-label, phase 2 study.

フチバチニブ: N Engl J Med 2023; 388. Futibatinib for FGFR2-Rearranged Intrahepatic Cholangiocarcinoma

注：1. 最も有害事象の発生率が低い薬剤に比べて、5%以上発生率が高いもの

グローバルフェーズ3試験（臨床試験名： Beacon-BTC）戦略

フェーズ2試験結果に基づき、ナンブランラトの効果が期待できる試験設計に

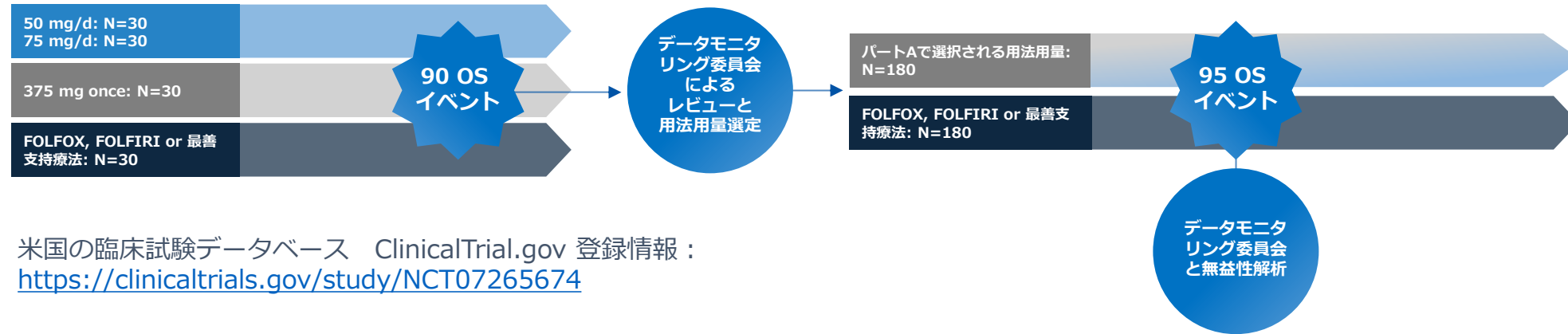
フェーズ2試験結果に基づく試験設計

- 主要評価項目をOSとする
- フェーズ2でOSの効果が良好であった対象患者群を選別（AVC¹を除外、2次療法に限定）
- 米国では、外科手術割合が低く（<5%²）、OS効果が良好であった手術無しの患者がほとんどになる見込み
- 病勢進行後も治療を続ける戦略（Treatment Beyond Progression）を適用し、病態進行後も、治療継続可能とする

パートA 用法用量設定（2年）

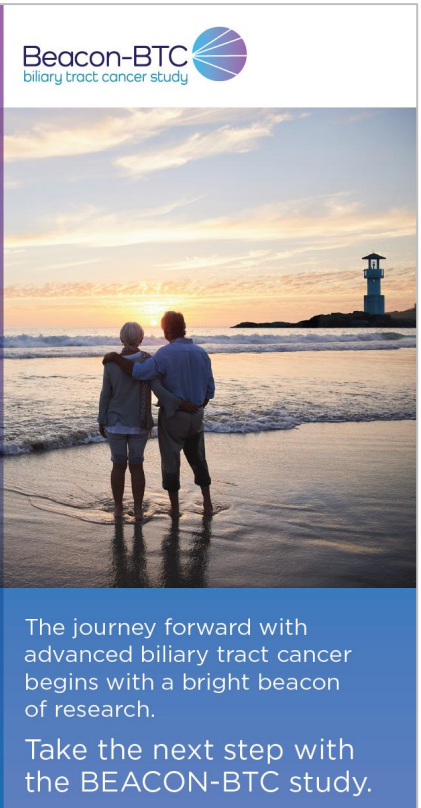
パートA

用法用量の異なる3種類のナンブランラト投与群と最善支持療法群の4群（各30例）を比較
主要評価項目：全生存期間OS



米国の臨床試験データベース ClinicalTrial.gov 登録情報：
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07265674>

注：1. AVC=十二指腸乳頭部がん
出所：2. COMPILE Claim Data accessed in Dec 2023



免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用療法への展開

免疫のブレーキ解除と免疫活性化の相乗効果による抗腫瘍効果の増強

免疫チェックポイント阻害剤（ICI）の働き方

1. がんは免疫細胞に「攻撃するな」と、免疫回避ブレーキをかける
2. ICIはそのブレーキを解除する働き
3. その結果、免疫ががん細胞を攻撃できるようになる

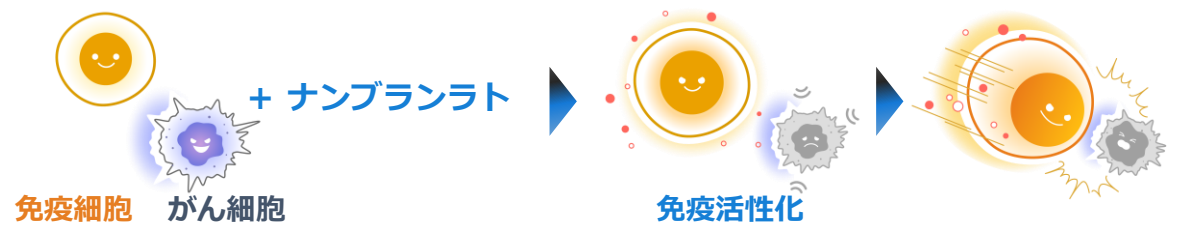
がん細胞による、免疫のブレーキ解除



ナンブランラトの免疫学的意義

1. がんはLAT1を介して周辺のアミノ酸を奪い、免疫細胞を弱らせる
2. LAT1阻害剤によりがん細胞のアミノ酸を枯渇させると同時に、周辺のアミノ酸濃度を戻し、免疫細胞を活性化
3. その結果、免疫細胞によるがん細胞への攻撃力を高める

免疫細胞のエネルギー回復による免疫活性化



併用

「免疫のブレーキ解除」 × 「免疫活性化」 = 抗腫瘍効果増強
+ ICI + ナンブランラト

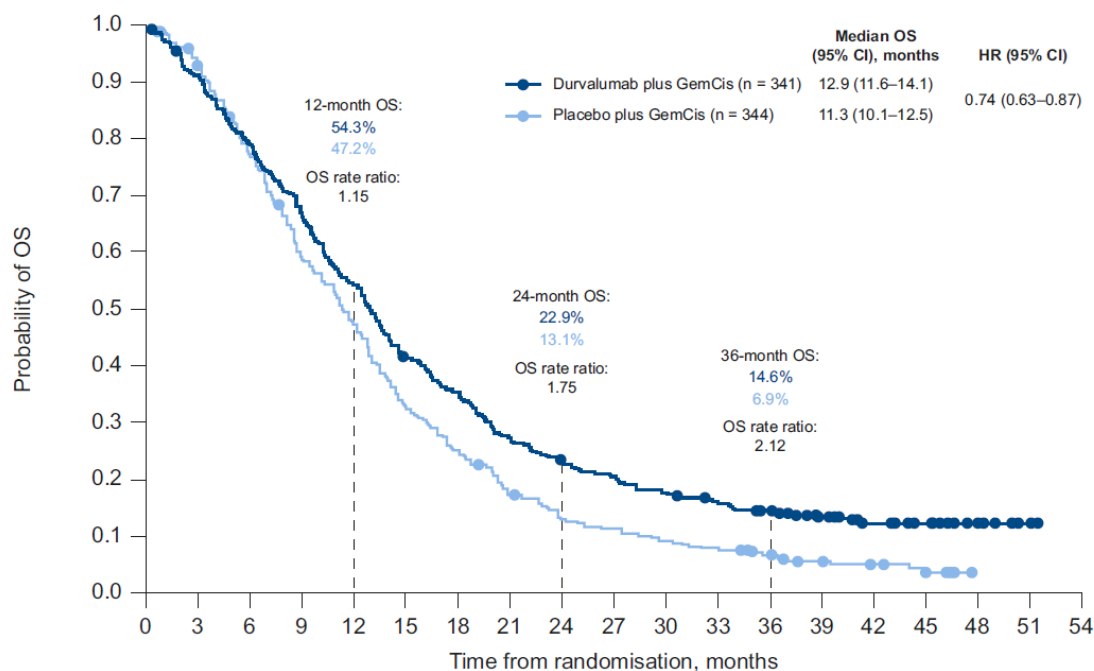
免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用療法：胆道がん1次療法の医師主導試験開始

ICIの効果を持続・増強し、長期の生存率のさらなる向上を図る

現在の標準療法の効果を実証したTOPAZ-1¹試験の3年追跡結果²

- 当治療法において、25週目以降はICI単剤の維持療法に切り替わる
- 24か月生存するのは25%以下であり、いまだアンメットニーズが高い

3剤併用 ICI（デュルバルマブ）単剤による維持療法

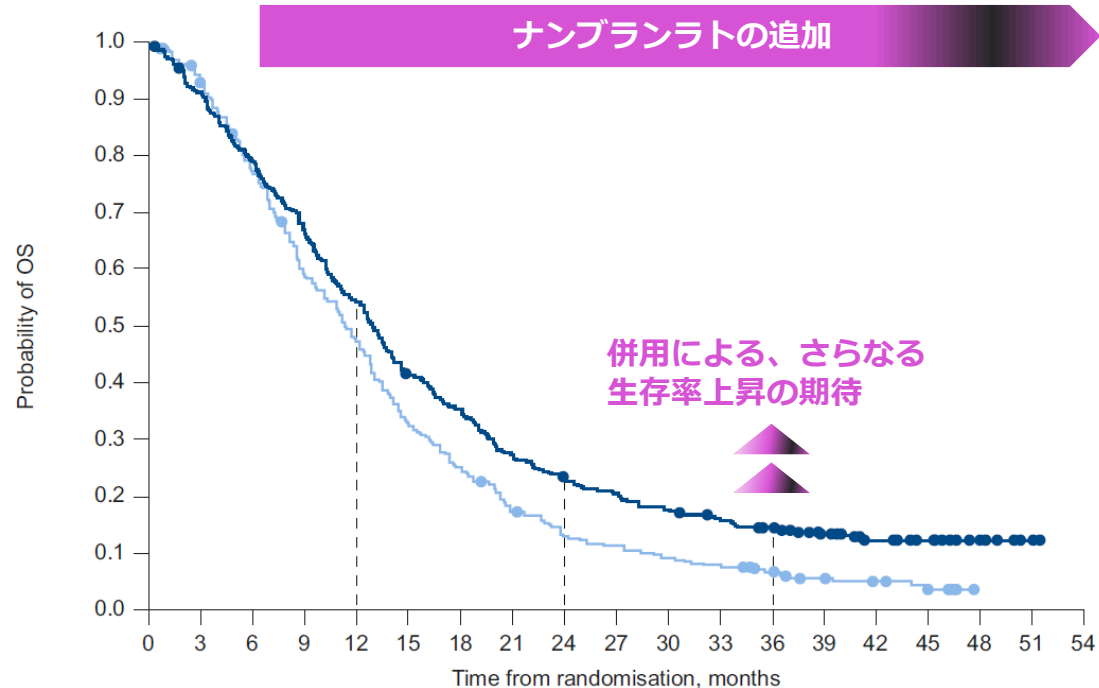


注：1. 胆道がんに対するデュルバルマブ+ゲムシタピン/シスプラチン療法（3剤併用は最初の6カ月のみ。その後は、デュルバルマブ単剤の維持療法に移行。）
出所：2. J Hepatol., 2025, 83, 1092-1101. 3. Front Immunol., 2023, 14, 1251643.

ナンブランラトによる効果増強戦略

- 25週目以降にナンブランラトを追加することで相乗効果を期待
 - 前臨床モデルにおいて、ナンブランラトとICIの併用による相乗的な抗腫瘍効果を確認³

3剤併用 ICI（デュルバルマブ）単剤による維持療法



太陽のように患者に寄り添う抗がん剤の開発

北風のような副作用の強い抗がん剤

- 辛い治療
- 長期間治療ができない

太陽のように副作用が少なく患者に寄り添う抗がん剤

目標とする治療により得られるメリット

- 生活の質を維持したまま、ご家族との時間を増やせる
- 長期間の治療が可能 → さらなる延命効果
- 最後まで希望をもてる

※本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性がある

胆道がん市場における獲得可能市場

総獲得可能市場規模に照らせば、日本発のブロックバスター¹を目指せるポテンシャル

ナンプランラト 胆道がん適応症 総獲得可能市場(2035年)²

	ナンプランラト適格患者数 ³	想定月間薬価 ⁴	想定治療期間 ⁵	総獲得可能市場	
単剤療法 (2次療法)	JP  10,000人	USD 10,000	4.5カ月	=	USD 450 M
	US  8,000人	USD 30,000			
	EU4+UK  11,500人	USD 20,000			
併用療法 (1次療法)	JP  16,000人	USD 10,000	4.5カ月	=	USD 720 M
	US  13,000人	USD 30,000			
	EU4+UK  18,500人	USD 20,000			

- 高薬価に基づき、大きな市場が見込まれる
- 胆道がん患者数は高齢者人口増に伴い継続的に増加しており、2035年以降も市場拡大が見込まれる
- 1次療法・2次療法ともにアンメットニーズが高い⁶ことから、この大きな市場の中でのシェア獲得を目指す

出所：

1. 売上が世界的に高い製品をいう。一般には、全世界での1年間の売上が10億ドルを超える薬を指すことが多い。
 2. 下記3から5記載の仮定及び算出方法により、第三者作成のデータに基づいて、当社による一定の仮定のもとに、当社にて算出した推計値。算出に用いた第三者データや仮定の正確性、妥当性には固有の限界があり、また、今後の市場動向の変化の影響を受けるため、実際の獲得可能市場規模はかかる推計値とは大きく異なる可能性がある。
 3. 併用療法（1次療法）と単剤療法（2次療法）の市場には重複があるため、実際に当社が獲得しうる市場規模は両者の市場規模の単純合算とはならない。
 4. 当資料P40記載の2023年の各地域の胆道がん患者数に、“The World Bank, DataBank, Population estimates and projections” 上での60歳以上人口増加率を掛け算することで、2035年の患者数を推計。更に、専門医インタビューや“COMPILE Claim Data Dec 2023”に基づき、医薬品治療を受ける割合(90-95%)、1次治療を受ける割合(80%)、2次治療に移行する割合(62%)と仮定することで、1次療法と2次療法の患者数を推計。
 5. 日本・米国：既存の胆道がん治療薬Pemazyre、Tibsovo、Lytgobi、Ziheraの類似値、EU：米国の65%の薬価
 6. 胆道がん1次療法のゲムシタピン+シスプラチン療法と同期間を想定。ゲムシタピン+シスプラチン療法の治療期間は、“COMPILE Claim Data Dec 2023”より。
6. 1次療法・2次療法のアンメットニーズは、当資料P43を参照

First-in-Class の抗がん剤売上

First-in-Class の抗がん剤の多くはブロックバスター（年間売上USD 1B）となる

2010年代にFDA承認を受けた代表的な First-in-Class の抗がん剤のピーク売上

一般名（商品名）	ピーク年	年間売上高 （USD換算、概算値）	売上高出所
ipilimumab (Yervoy)	2024	2.53 B	Bristol Myers Squibb Reports Fourth Quarter and Full-Year Financial Results for 2024
vemurafenib (Zelboraf)	2013	0.33 B	Roche Finance Report (2013, 2015)
crizotinib (Xalkori)	2017	0.59 B	Pfizer Financial Report (2013, 2017), Form 10-K (2020)
ibrutinib (Imbruvica)	2021	5.41 B	AbbVie Form-10K (2024, 2021, 2020, 2018)
nivolumab (Opdivo)	2027 (推定)	11.3 B (推定値)	GlobalData Pharma: Sales and Forecast
palbociclib (Ibrance)	2021	5.44 B	Pfizer 2021 Annual Review GlobalData Pharma: Sales and Forecast
alectinib (Alecensa)	2024	1.61 B	Roche Finance Report (2024)
atezolizumab (Tecentriq)	2023	4.14 B	Roche Finance Report (2022, 2024)
larotrectinib (Vitrakvi)	(推定ピーク)	0.84 B (推定値)	Reuters news article; February 16, 2019
entrectinib (Rozlytrek)	2024	0.48 B	FIERCE Pharma; Sep 16, 2021
polatuzumab vedotin (Polivy)	2024	1.26 B	Roche Finance Report (2024)
daratumumab (Darzalex)	2024	11.7 B	Genmab News: Genmab Announces Net Sales of DARZALEX® (daratumumab) for 2024

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- **主要パイプライン**
 - 胆道がん
 - **再発を伴わない2次性進行型多発性硬化症**
- 事業の成長性
- 事業のリスク

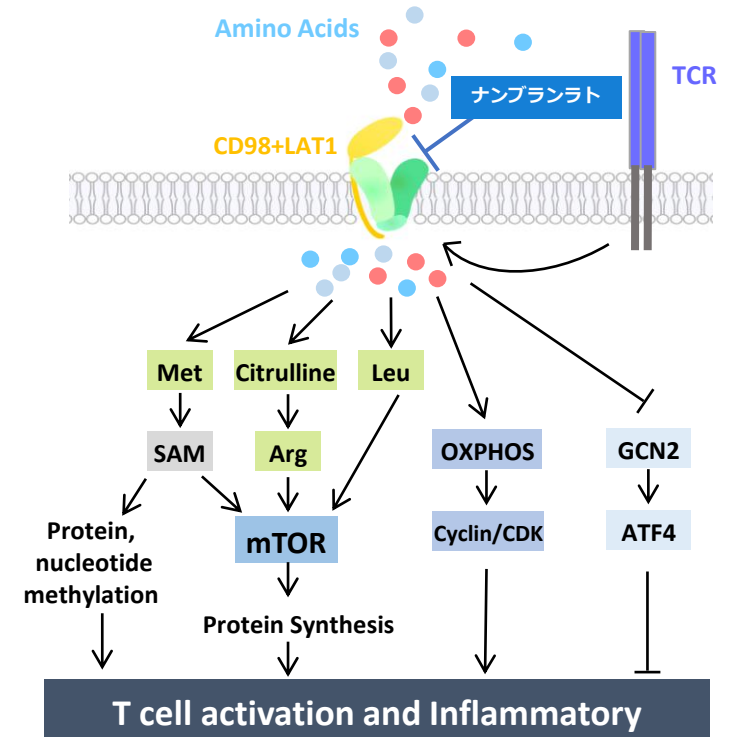
自己免疫疾患治療薬としてのLAT1阻害剤の可能性

多発性硬化症で、神経・自己免疫疾患領域に展開

多くの文献が、**LAT1が自己免疫疾患の治療ターゲット**となり得ることを示唆

- LAT1は、mTOR経路を制御し、リンパ球の増殖とサイトカインの放出を促進する^{1,2}
- LAT1を遺伝学的・薬理的に遮断すると、活性化した免疫細胞において炎症性サイトカインの放出が減少する^{2,3}
- このことから、LAT1は過剰な免疫応答に起因する自己免疫疾患に対する、新たな治療標的となり得る^{4,5}
- 特に、神経に炎症が起こる病気では、LAT1を抑えることで炎症や酸化ストレスによる神経細胞の損傷を防ぐ効果が期待され、**多発性硬化症をはじめとする神経炎症性疾患に対する有望な治療法**となる可能性がある^{6,7}

T細胞活性化におけるLAT1の機能



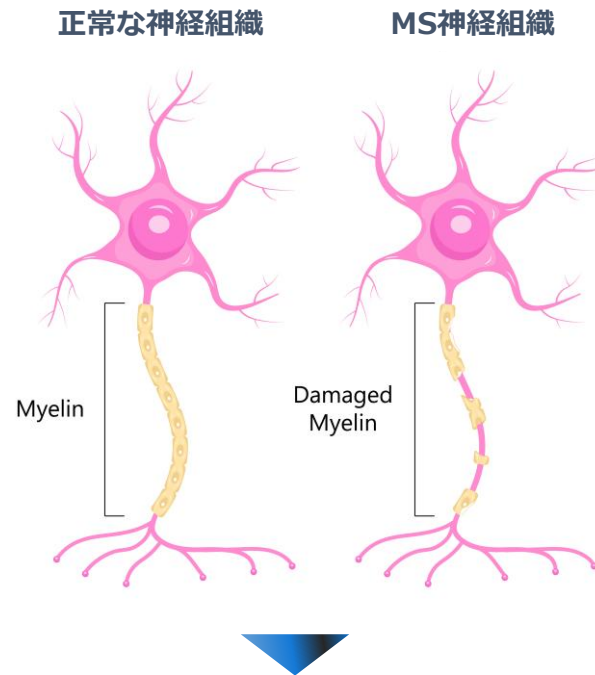
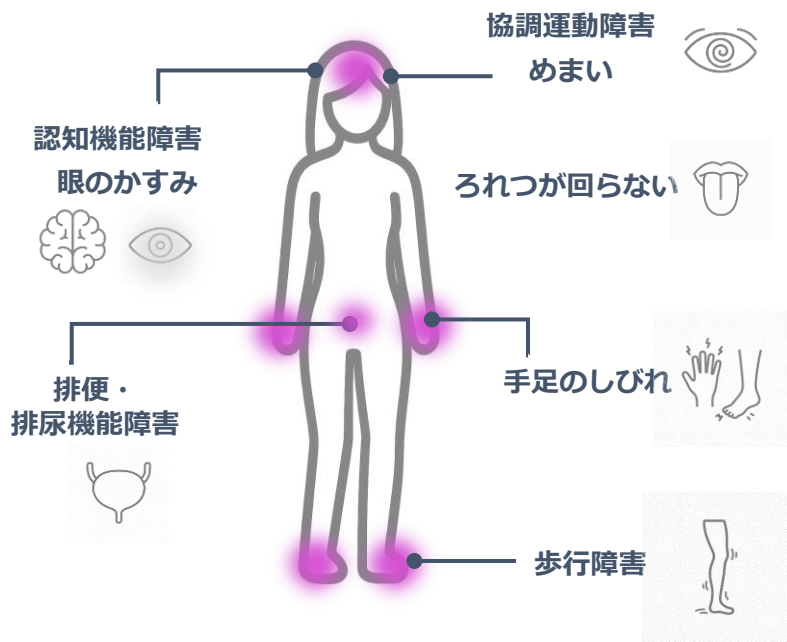
OXPHOS : 酸化リン酸化
SAM : S-アデノシルメチオニン
TCR : T細胞受容体

出典 : 1. Adv Nutr., 2016, 7, 798S-805S. 2. J Pharmacol Sci., 2022, 148, 31-40. 3. J Immunol., 2013, 191, 4080-4085. 4. Front. Immunol., 2018, 09, 00053. 5. J Allergy Clin Immunol., 2020, 145, 199-214.e11. 6. Front Aging Neurosci., 2017, 9, 129. 7. 当社と Georgetown University, University of Turku との共同・委託研究結果に基づく社内レポート

多発性硬化症（MS）概要

若年で発症する慢性の難病で、全世界で290万人もの罹患者数

MSの主な症状



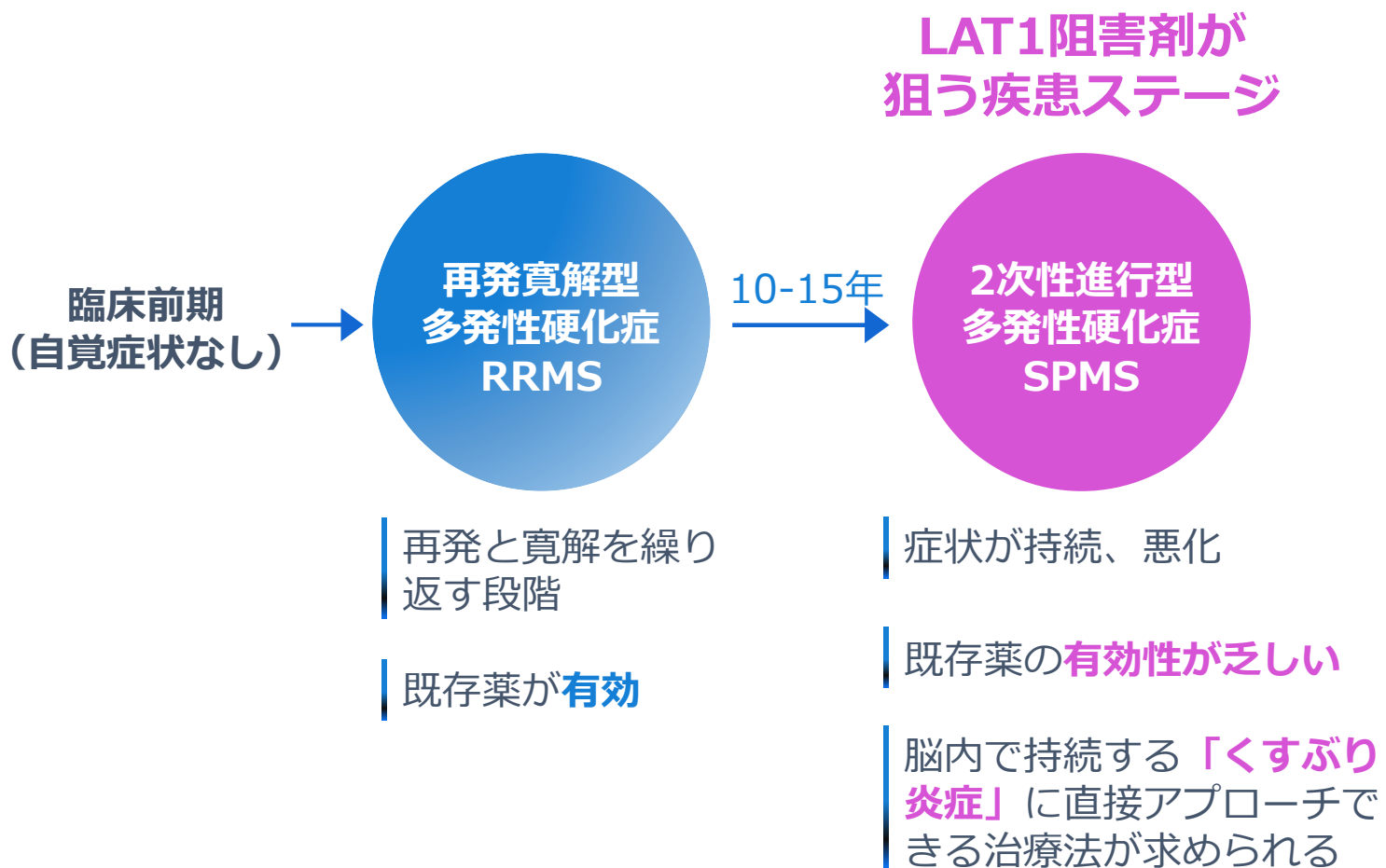
- 厚生労働省 指定難病13
- 診断平均年齢（全世界）：32歳¹
- 患者数²

国・地域	罹患者数（人）
全世界	2,900,000
米国	913,925
EU4+UK	705,290
中国	42,440
日本	18,000

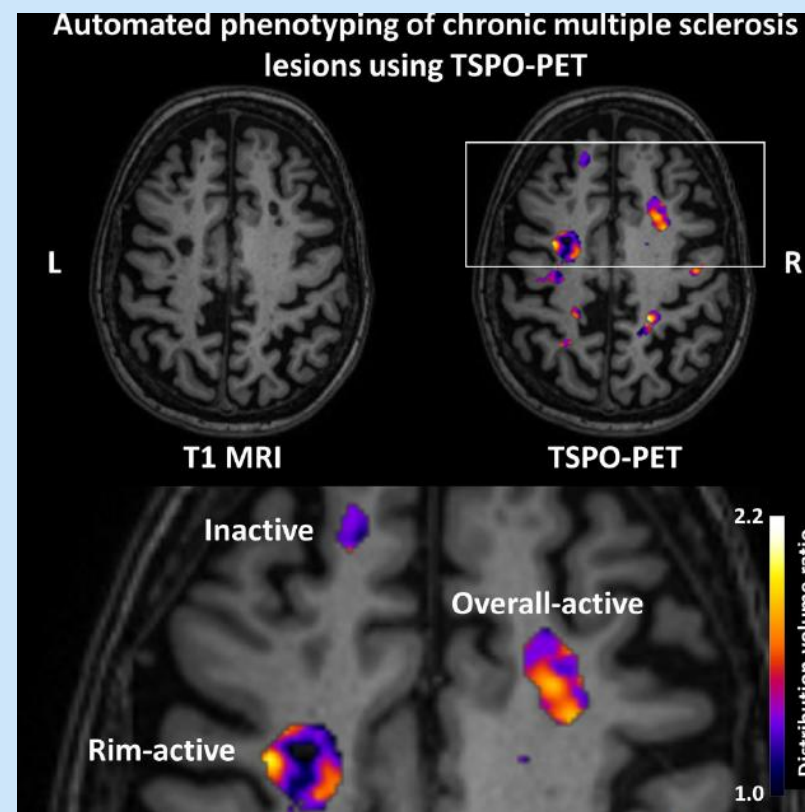
免疫反応による炎症により、神経細胞の軸索を取り囲む髄鞘が損傷（脱髄）
その結果、神経信号の伝達が遅延または途絶し、さまざまな神経症状が発生

出所：1. Atlas of MS 3rd edition, MS International federation, September 2020 (<https://www.msif.org/wp-content/uploads/2020/10/Atlas-3rd-Edition-Epidemiology-report-EN-updated-30-9-20.pdf>). 2. MS Fact Sheet, MS International federation (<https://atlasofms.org/map/global/epidemiology/number-of-people-with-ms> 閲覧日 2026年3月11日)

治療困難な進行型多発性硬化症とくすぶり炎症



TSPO-PET で可視化した SPMS脳内の「くすぶり炎症」¹



出典 : 1. Marjo Nylund, Brain Communications, Volume 4, 2022, fcab301.

より長期的に患者さんの社会活動を支える治療選択肢となることを目指す

MSの社会的影響：演奏家の例



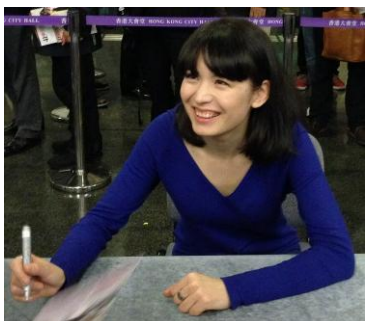
写真：Sardaka/Wikimedia Commons 「(1)Jacqueline du Pré-2.jpg」 /CC BY-SA 4.0

ジャクリーヌ・デュ・プレさん

英国のチェリスト
20世紀を代表する演奏家
の一人

1973年多発性硬化症診断

指先の感覚が鈍くなり
演奏にも影響、引退へ



写真：Yuyu, "Alice Sara Ott 2013.jpg," Wikimedia Commons, CC BY-SA 3.0

アリス＝紗良・オットさん

ドイツと日本にルーツを
もつ、現代を代表する
ピアニストの一人

2019年多発性硬化症診断

MS診断後も
現在までプロ活動を継続



- 治療薬の進歩により、患者さんが社会活動を継続できる可能性が広がった
- 疾患進行後に移行する「**二次性進行型MS**」を対象にLAT1阻害剤を開発することで、より**長期的な社会活動の維持**に貢献することを目指す

2次性進行型多発性硬化症に対し、独自の技術で切り込む

脳移行型LAT1阻害剤「JPH034」で、脳内の免疫細胞を再プログラム

LAT1阻害剤による当社のアプローチ

- SPMSにおける「くすぶり炎症」は、**脳内の免疫細胞ミクログリア**が引き起こし、既存薬のミクログリアに対する作用は限定的^{1,2}
- **脳移行型LAT1阻害剤「JPH034」**は、**脳内に移行し、ミクログリアを標的**とすることで、**新しい治療アプローチ**となる可能性^{3,4}
 - くすぶり炎症への**LAT1の関与**をヒトの患者脳で実証
 - JPH034の**脳への移行性**をサルで実証
 - 複数の動物モデルで、JPH034の**多発性硬化症**に対する**効果**を実証

海外大学や補助金団体と協力

GEORGETOWN
UNIVERSITY



日本医療研究開発機構 (AMED)

National MS Society

2026年3月23日、JPH034の第1相臨床試験を米国開始

出典：1. Nat Revs Neurol., 2023, 19, 477-488. 2. Neuron. 2022, 110, 3534-3548. 3. Nat Rev Neurol., 2023, 19, 289-304. 4. 当社と Georgetown University, University of Turku との共同・委託研究結果に基づく社内レポート

2次性進行型多発性硬化症（MS）市場規模

2033年には全世界でUSD 9.8Bが見込まれる成長巨大市場

2次性進行型MS治療薬市場規模（全世界、B USD）¹

2024年	2033年（予測）
5.6	9.8

- 2026年から2033年CAGR：6.5%

市場成長要因¹

- 新規患者数の増大
 - 診断技術の発展
 - 再発寛解型MSからの移行
- 既存薬よりも効果が高いことが想定されている薬剤の上市

出所：1. Secondary Progressive Multiple Sclerosis Drug Market report, Verified Market Reports, March 2025

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス/テクノロジー
- 主要パイプライン
- **事業の成長性**
 - **「Goals for 2030」と具体的活動**
 - グローバルライセンシング活動
 - ライフサイクルマネジメント
- 事業のリスク

「Goals for 2030」と具体的活動

臨床開発に加えて、ライセンシング活動・ライフサイクルマネジメントで達成を目指す

Goals for 2030	具体的活動
LAT1阻害剤[（ナンブランラト） First-in-Class]単剤療法での、胆道がん治療薬としてグローバル承認獲得 <ul style="list-style-type: none">● 日本発のブロックバスター製品（年間売上USD 1B）を目指す	<ul style="list-style-type: none">● グローバル臨床開発 （当資料「主要パイプライン」のセクション参照）● 事業化スキームの構築
免疫機構に着目した新たな治療薬の可能性を追究し、がん、自己免疫疾患、希少疾患へと展開	
次世代LAT1阻害剤（Best-in-Class）の臨床試験入り	<ul style="list-style-type: none">● ライフサイクルマネジメント
新たなトランスポーター阻害剤の創出によるパイプライン拡充	
種々の創薬技術を取り込みプラットフォーム化し、継続的な創薬と事業化の仕組み作り	

※上表は現時点の当社の戦略的な目標を示したものであり、実際の2030年の状況とは異なる可能性がある

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- **事業の成長性**
 - 「Goals for 2030」と具体的活動
 - **グローバルライセンシング活動**
 - ライフサイクルマネジメント
- 事業のリスク

グローバルライセンス戦略

グローバル開発後期段階まで自ら進める強みを活かし、大型契約を狙う

日本ローカル
開発初期

グローバル
開発後期

フェーズ3導出中央値：USD 42M²

（フェーズ3アセットの導出の場合、
契約一時金50億円以上もめずらしくない）

東証グロース
に上場した
バイオベンチャー事例¹
(金額の降順)

2008年上場D社（前臨床）
契約一時金：USD 20M

2024年上場C社（前臨床）
契約一時金：USD 15M

2024年上場B社（前臨床）
契約一時金：8億円

2022年上場A社（国内フェーズ2）
契約一時金：USD 4M

2008年上場D社（前臨床）
契約一時金：USD 2M

2011年上場E社（前臨床）
契約一時金：2億円

2011年上場E社（前臨床）
契約一時金：USD 1M

より高額な契約が期待できる
グローバル開発後期での導出事例
がほとんどない

- 左記のような状況を踏まえて、厚生労働省は「ヘルスケアスタートアップの振興・支援に関するホワイトペーパー」（2024）の中で、「開発の早い段階でのアライアンス契約はスタートアップ側に不利となりうるおそれがあるところ、上場要件を満たすために大手製薬企業等とのアライアンス契約を締結することは、バイオスタートアップの企業価値を毀損しかねない」と記している
- 当社は、FDAのレビュー下でのグローバル開発により化合物の価値を飛躍的に高めてからディールを行うことで、グローバルバイオベンチャーとして相応しい規模感のディールを目指す

注：本ページに記載の情報は、当社とは直接関係のない他社に関する情報であり、当社の開発品に係る契約一時金の金額等を示し又は示唆するものではない。ディールサイズ（契約一時金の額）と開発状況の相関関係に関する当社による分析を示したイメージ図
出所：1. 各事例の契約一時金：各社公表資料 2. Q3 2024 Biopharma Licensing and Venture Report by J.P.Morgan: 2023年の値 中国のみ・欧州のみなどのローカルライセンスを含む

ライセンス状況

グローバルの開発・販売権を当社に保持

化合物	対象疾患	米国	欧州	中国	日本
ナンブランラト (JPH203)	胆道がん	当社が権利保持		OHARA	
	KRAS変異大腸がん				
	希少疾患				
JPH034	再発を伴わない2次性 進行型多発性硬化症				
	グリオーマ				

大原薬品工業株式会社とのライセンス契約

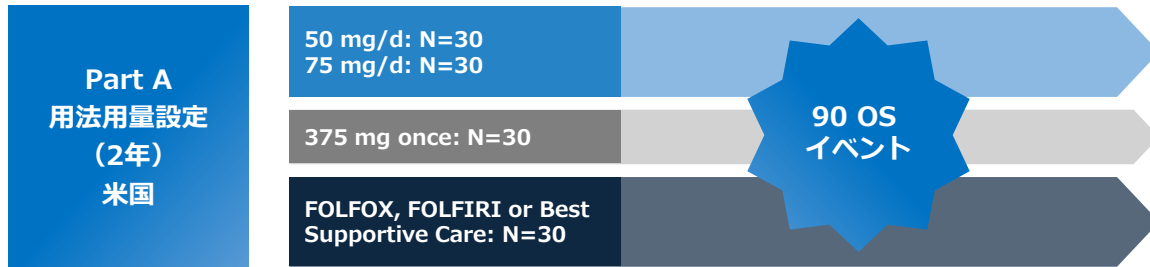
ライセンス範囲	大原薬品工業への原薬の販売 大原薬品工業による製造・販売
対象疾患	胆道がん
対象国	日本、中国、韓国、他アジア・アフリカ圏8か国
契約一時金・マイルストーン	最大5.5億円
ロイヤルティ	最大で売上の10%
その他	2億円の出資

ナンブランラトのライセンスに向けて

長期にわたる継続的なデータ開示により、複数企業が競う状況を作り出す

グローバルフェーズ3 Part A は、臨床的に有意義でナンブランラトの効果が期待できる設計であることに加えて、**グローバル大手製薬が興味を持つデータ**となるように米国の専門家の意見を組み込み設計

ナンブランラト胆道がんグローバルフェーズ3 (Beacon-BTC) Part A



グローバル大手製薬に示していくポイント

- OSによる効果の評価
 - ・ ナンブランラト3群をまとめると90名の組み入れとなり、フェーズ2より大きい規模
- 実臨床に即した、Physician's Best Choice (FOLFOX, FOLFIRI or 緩和ケア) との比較
- 使用しやすい、46時間持続点滴群 (2週に1度の来院で治療可) の追加

設計に携わった専門家



Dr. Michael Szarek, Ph.D.

米国の統計学者、投資家、大学教員、米バイオベンチャー役員



Dr. Eric Rowinsky, M.D.

米国の腫瘍専門医、薬事開発コンサル、米バイオベンチャー役員

潜在パートナーの選定

当社開発品と相性がよいパートナー候補企業の絞り込み

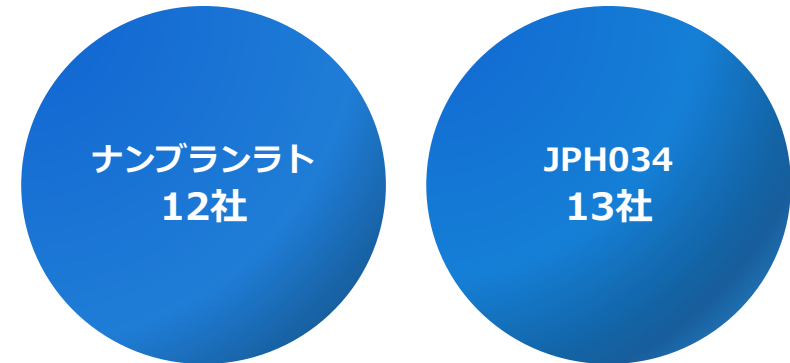
ナンブランラト（主に胆道がん）とJPH034（主に多発性硬化症）それぞれの市場の特性を加味した適切なパートナー候補を絞り込み、
コンタクトを開始。興味を持つパートナー候補企業とNDA下で協議開始

パートナー候補選定理由

- ナンブランラト：
胆道がんで承認薬を持つ、がん領域のフェーズ3アセットを探している、
消化器がんに注力 等
- JPH034：
多発性硬化症アセットを探している 等
- 共通：
日本（あるいはアジア）のバイオベンチャーと提携したい、米国に進出したい
（米国売上を伸ばしたい）

ライセンス交渉に関して継続的にコミュニケーションを実施している 候補企業数

2026年6月5日時点



がん領域のフェーズ3アセットのグローバルライセンス（2021年～2025年）

がん領域のフェーズ3アセットにおいては、契約一時金1億米ドル、契約総額10億米ドルを超える契約が珍しくない

契約時にフェーズ3が進行中であった、がん領域のライセンス契約（2021年～2025年）¹

契約発表年月	導出元	導出先	開発品	優先する適応症	対象地域	契約総額 ² (USD M)	契約一時金 (USD M)
2024年1月	Protagonist	Takeda	rusfertide	真性多血症	全世界	非公表	300
2023年7月	Nanobiotix	Janssen	NBTXR3	局所進行 頭頸部がん	全世界（中国等を除く）	最大1,830	30
2022年12月	Akeso	Summit	ivonescimab	非小細胞肺がん	米国・カナダ・欧州・日本	最大5,000	500
2022年11月	POINT Biopharma	Lantheus	PNT2002	転移性去勢抵抗性前立 腺がん	全世界（日中等を除く）	最大1,800	250
2022年11月	POINT Biopharma	Lantheus	PNT2003	膵消化管 神経内分泌腫瘍	全世界（日中等を除く）	最大315	10
2021年3月	Debiopharm	Merck KGaA	xevinapant	局所進行頭頸部 扁平上皮がん	全世界	最大898	188
2022年10月	Zymeworks	Jazz	zanidatamab	切除不能または転移性 HER2陽性胆道がん	全世界（中国等を除く）	最大1,763	50

契約は別だが、
実質的には1度
のデール

全7件のライセンス契約の中で、胆道がん2次療法を対象とするHER2 標的バイスペシフィック抗体zanidatamabの契約は、契約一時金が比較的小さいがナンプランラトと同疾患領域であり、当社はベンチマークとして認識

出所：1. © GlobalData（データ取得日：2025年10月30日） 各社プレスリリース（GlobalDataに掲載された、抗がん剤領域のライセンス契約(2021-2025)全661件のうち、フェーズ3実施中の1開発品のみ契約で、欧米を含むグローバル契約で、かつ契約一時金または契約総額が公表されているものを抽出
注：1. 本ページに記載の情報は、当社とは直接関係のない他社に関する情報であり、当社の開発品に係る契約金額等を示し又は示唆するものではない 2. 契約総額は契約一時金とマイルストンの合算値

ナンブランラトと zanidatamab の比較

ナンブランラトは、zanidatamab と比較可能な事業性を有する

項目	ナンブランラト	zanidatamab ¹	ナンブランラトの優位性
作用機序	LAT1阻害剤	二重HER2標的バイスペシフィック抗体	
契約時の開発ステージ	フェーズ3	フェーズ3	
主要な対象地域	欧米	欧米日	▼
主要な対象疾患	胆道がん	胆道がん	
他に開発を進める疾患	大腸がん	胃・食道がん、乳がん	
胆道がんでの対象患者	2次療法の患者のうち 分子標的薬に適合しない 70%	2次療法の患者のうち HER2陽性 (9-24%)	▲
特許	用途特許群が承認後 8年間有効 ⁴ (特許延長制度で最大5年間延長)	物質特許が承認後10年間有効 ² 用途特許群が承認後 15年間有効 ³ (特許延長制度で最大5年間延長)	▼



▲ : 優位

▼ : 劣位

ナンブランラトは zanidatamab と比較可能な事業性を有しており、当社は zanidatamab の事例をライセンス契約のベンチマークとして認識

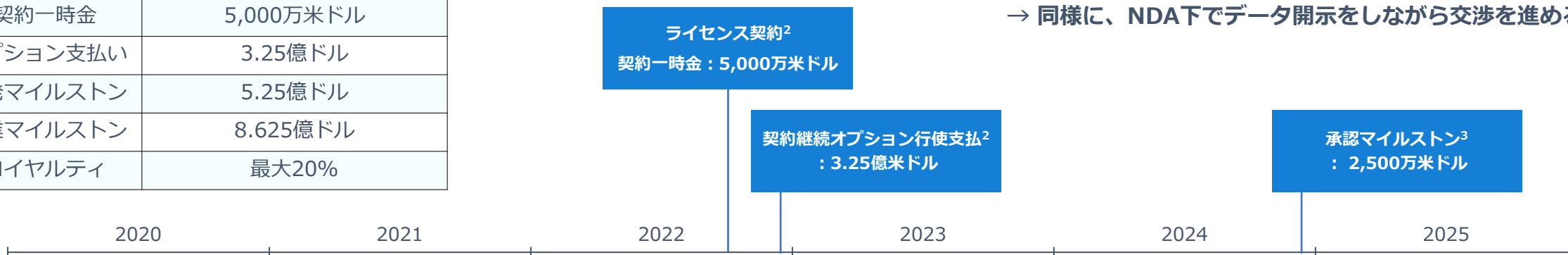
出所 : 1. © GlobalData (データ取得日 : 2025年10月30日) 2. Google Patents (出願人 Zymeworks Inc. 特許番号 US 10,000,576 B1 「Bispecific antigen-binding constructs targeting HER2」、閲覧日 2025年 11月 11日) 3. Google Patents (出願人 Zymeworks Inc. 特許番号 US 12435157 B2 「Methods of using a bispecific antigen-binding construct targeting HER2 for the treatment of biliary tract cancers」、閲覧日 2025年 11月 11日)
注 : 4. 2031年の承認を想定

【参考他社事例】Zanidatamab のライセンス契約と臨床試験

Zanidatamab の契約では迅速承認に繋がるフェーズ2b試験の中間解析を受け、3.25億米ドルの支払いがなされた

項目	内容 ¹
対象開発品	zanidatamab
作用機序	二重HER2標的 バイスペシフィック抗体
対象地域	欧米日（中国等は含まない）
契約一時金	5,000万米ドル
オプション支払い	3.25億ドル
開発マイルストーン	5.25億ドル
商業マイルストーン	8.625億ドル
ロイヤルティ	最大20%

- Zanidatamab のフェーズ2b試験：単群のオープンラベル試験
→ データが一部開示されながら交渉されたことが想像される
→ 中間解析結果後、オプション行使による3.25億米ドルの払込
- ナンプランラトのグローバルフェーズ3 Part A：オープンラベル試験
→ 同様に、NDA下でデータ開示をしながら交渉を進める



出所：1. © GlobalData（データ取得日：2025年10月30日）2. Zymeworks Inc. 「Form 10-K 年次報告書（2022年度）」、米国証券取引委員会（SEC）提出書類、提出日：2023年3月7日 3. Zymeworks Inc. 「Form 10-K 年次報告書（2024年度）」、米国証券取引委員会（SEC）提出書類、提出日：2025年3月5日
注：本ページに記載のzanidatamabに関する記載は、当社とは直接関係のない他社に関する情報であり、当社のライセンス契約や臨床試験等に関する情報を示すものではなく、また、これらに関する将来の見込み等について示唆するものではない

多発性硬化症（MS）治療薬のライセンス契約の事例

MSの大型ディールとJPH034のポテンシャル

MSにおける臨床試験化合物の大型ディール

トレブルチニブ

対象疾患：再発を伴わない2次進行型多発性硬化症
作用機序：ブルトン型チロシンキナーゼ（BTK）阻害

- フェーズ1でBTK受容体占有率（receptor occupancy）を評価；血液脳関門を通過し、脳脊髄液（CSF）中での薬物到達を確認

2017年、SanofiはPrincipiaとフェーズ1の途中で合計**7.65億米ドル**で独占的世界ライセンス契約¹

→Sanofiは、フェーズ2成功後2020年にPrincipiaを**36.8億米ドル**で買収²

PIPE-307

対象疾患：再発寛解型多発性硬化症（RRMS）
作用機序：ムスカリン性アセチルコリン受容体M1サブタイプ（M1R）アンタゴニスト

- 動物試験で高い**中枢移行性**を示す³
- フェーズ1試験では安全性と脳内受容体占有を確認

2023年、JanssenがContineumとマイルストーン最大**10億米ドル**でライセンス契約⁴

JPH034の特長と比較

JPH034

対象疾患：再発を伴わない2次性進行型多発性硬化症
作用機序：LAT1阻害

- EAEマウスモデルにおいて運動麻痺改善、強い免疫調整・神経保護作用を発揮、視覚誘発電位（VEP）遅延の改善⁵
- ヒトのMS病変部でのLAT1関与を実証⁵
- サルで高い**中枢移行性**を確認⁶

- MS領域にはフェーズ1段階でも大型ディール（>10億米ドル）が存在、**中枢移行性**を有する新規メカニズムを高く評価
- JPH034も大型ディールに至った2剤と同様に**中枢移行性**を有しており、独自の作用機序でMSにアプローチすることで、既存の免疫調節療法を補完し、包括的なMS治療を実現する可能性

出所： 1. Sanofi Annual Report on Form 20-F 2017. 2. Sanofi press release “Sanofi completes Principia Biopharma Inc. acquisition”, September 28, 2020. 3. Francesco M.R., et al. PRN2246, a potent and selective blood-brain barrier-penetrating BTK inhibitor, exhibits efficacy in central nervous system immunity. Poster presented at the 7th Joint ACTRIMS-ECTRIMS Meeting (MSParis 2017); October 25-28, 2017; Paris, France. 4. Contineum Therapeutics Press Release “Pipeline Therapeutics Announces Global License and Development Agreement for Investigational Neuroscience Therapy, PIPE-307”. April 17, 2023. 5. 当社と Georgetown University, University of Turku との共同・委託研究結果に基づく社内レポート 6. 社内レポート

Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- **事業の成長性**
 - 「Goals for 2030」と具体的活動
 - グローバルライセンシング活動
 - **ライフサイクルマネジメント**
- 事業のリスク

ライフサイクルマネジメント戦略

胆道がんを起点とし周辺事業に展開、事業価値を最大化

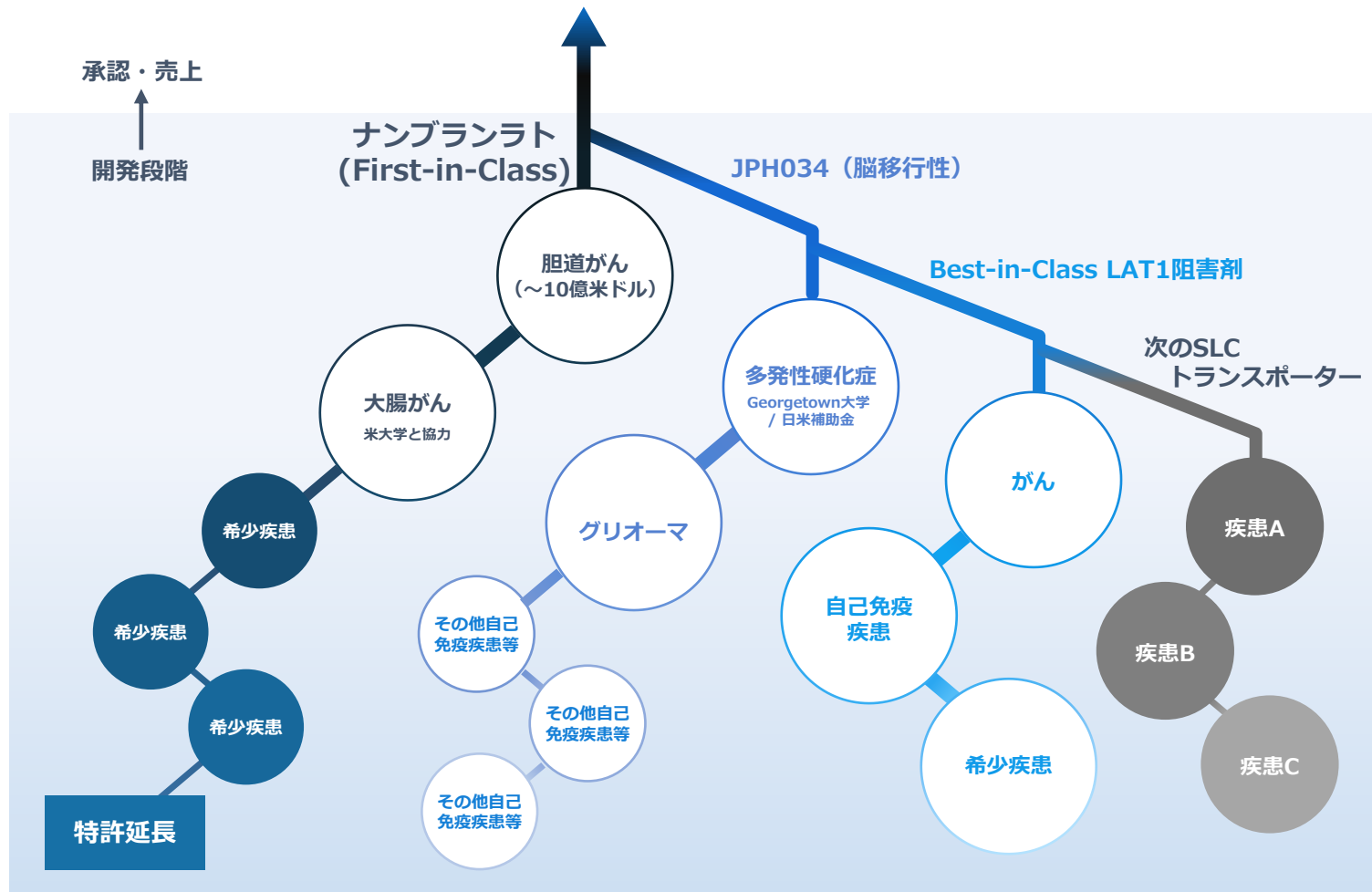
積極的な事業投資により、価値を生む事業を次々と掘り起こすことを目指す¹

医薬品開発では、一つの成功（POC）から事業価値を最大化させるために、疾患の展開、特許の延長、後継品（Best-in-Class）への展開と、次々と掘り起こしていく、ライフサイクル戦略が重要となる

当社は、LAT1阻害剤開発の先駆者として、世界で唯一臨床試験を実施²し、胆道がんにてPOCを達成。次に続くライフサイクル戦略に着手している

これらを自社、研究開発パートナー、事業パートナーと全力で進めることで大きな事業価値を創造していくことを目指す

注：1. 当社の事業戦略に関するイメージ図であり、実際の事業展開とは異なる可能性がある 2. 当社調べ



その他のパイプライン

胆道がん、多発性硬化症に続く、第3・第4の矢を準備

臨床開発
(準備中含む)

ナンブランラト KRAS変異大腸がん フェーズ1/2準備中



市場規模¹ : 19.95B USD (大腸がん全体、2034予測)

- 有意な増殖抑制を示す前臨床データ²
- KRAS変異は転移性大腸がん症例の40%³
- KRAS変異大腸がんにおいて既存薬の効果が限定的⁴

JPH034 グリオーマ



探索的臨床試験準備中

市場規模¹ : 7.51B USD (グリオーマ全体、2031予測)

- LAT1関与の各種報告に基づき、探索的な臨床試験を計画中⁵

非臨床研究

ナンブランラト 希少疾患 (複数)

動物モデルでの効果検証中

- 当社のLAT1阻害剤の特徴的な体内分布により、それらの希少疾患に関与するLAT1に到達する可能性
- ある希少疾患の動物モデルにおいてLAT1阻害剤の有効性を示唆する結果を確認し用途特許申請中⁶

新規化合物
探索

Best-in-Class LAT1阻害剤の創出

ナンブランラトと同等以上のLAT1選択性、阻害活性をもち、経口投与可能な候補化合物同定済
その構造の最適化を行うと同時に、非臨床試験を実施中

1. 市場規模データ出所 : 大腸がん - Colorectal Cancer Therapeutics Market Report, Precedence Research, 2024、グリオーマ - Glioma Treatment Market Report, 2022, Transparency Market Research (各出所の最終アクセス日 : 2024年12月9日)
出典 : 2. Nat Genet., 2021, 53, 16-26. 3. Justin Mencil, ASCO Daily News, 2023. 4. J Gastrointest Oncol., 2015, 6, 314-321.; J Gastrointest Oncol., 2016, 7, 687-704.; ASCO 2021. Abstract ID 3004. 5. Biochem Pharmacol., 2022, 201, 115103. 6. 社内レポート

ナンブランラトの特許強化・延長プロジェクト

実現可能性が高い特許強化・延長により、5年以上の延長を企図する

医薬品は、物質特許が切れた後も、製剤特許、用途特許などにより事業の独占性を延長させた事例が多く存在する

当社のナンブランラトは、物質特許が2023年に満了になっているが、オーファン医薬品としての事業保護期間に加えて複数の用途特許により2040年（米国）～2041年（日本）まで事業の独占性を担保している¹

更に、過去にグローバル大手製薬メーカーが実現したことがある手法によりナンブランラトの独占性をさらに5年以上延長することを企図し、その実現のために社内プロジェクトが進行中である

注：1. 当社の成立済用途特許に基づく、グローバル特許事務所による見解

経口投与可能な次世代LAT1阻害剤の探索

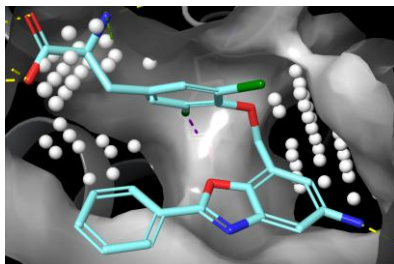
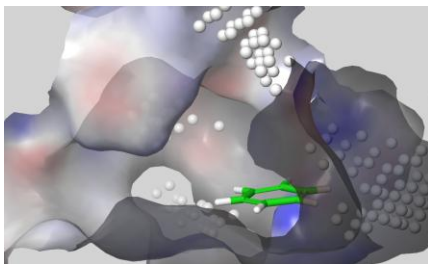
Best-in-Class として薬効発現のための標的指向性と経口吸収性の最適バランスを追求

SLCトランスポーター創薬の難しさ

- 複数のコンフォメーションで動作する“輸送サイクル”を持ち、構造情報が少なく作用メカニズムの理解が難しい
- 同じ化合物を複数のSLCが輸送することもあり、標的選択性を出しにくい

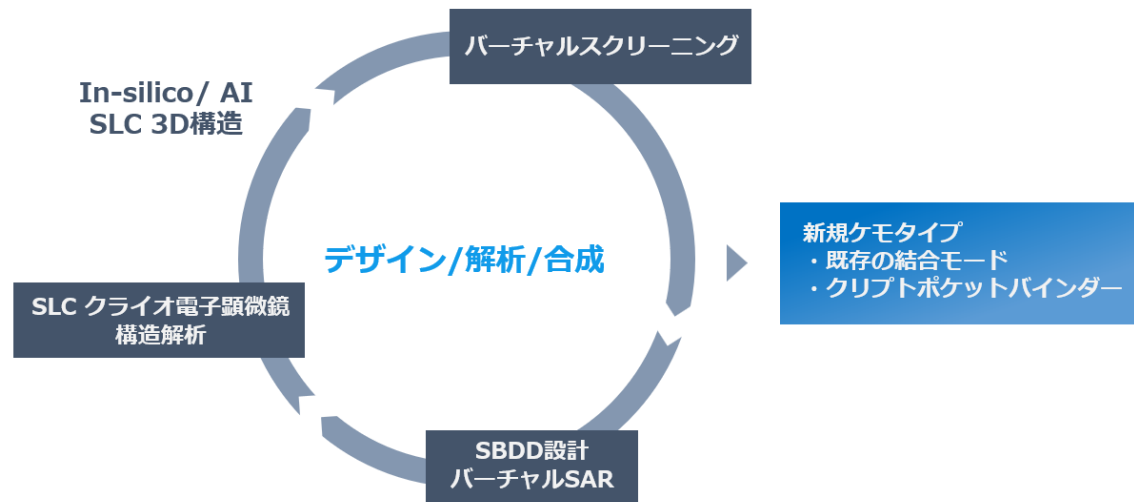
Cryo-EM（クライオ電子顕微鏡）を中心にした構造ベース創薬戦略

- 先行化合物に対して構造活性相関を迅速に構築することで、結合様式に基づく合理的な最適化を実現
- フォローアップ化合物にも Cryo-EM を継続活用し、構造情報を高速にフィードバックすることで、最短時間で高品質な開発候補を前臨床へ進める体制を確立
- さらに、自社で取得した構造情報をもとに三次元構造モデルを精密に構築し、ポケットの官能基指向性を解析することで、**スキヤフォールドホッピング**や**バーチャルスクリーニング**を可能とする独自の探索プラットフォームを形成



協業ネットワークによる独自創薬の展開、加速

- アカデミア・AI企業との連携により、自社情報をもとにSLC三次元構造を構築展開、クリプトポケットの可能性探索など、独自性の高い探索展開
- バーチャルスクリーニングと引き続き構造展開をAI/in-silicoツールを最大活用した高効率の創薬サイクルを確立



Agenda

- 会社概要
- 直近のTopicsと2027年3月期の見込み
- サイエンス／テクノロジー
- 主要パイプライン
- 事業の成長性
- **事業のリスク**

主要なリスクと対応

主要なリスク	リスクの概要	当社の対応方針
臨床・非臨床試験の結果に関するリスク	臨床・非臨床試験において想定通りの結果とならず、有効性や安全性を示せない可能性	これまでの知見・データに基づき、成功確率が高い治験デザインを構築すると同時に、パイプラインの幅を広げて単一のパイプラインに依存し過ぎない体制強化にも努める
薬事申請・承認に関するリスク	各国規制当局の判断により計画通りに開発を進められない可能性	当局との適切なタイミングでの対話や、薬事専門家との連携による戦略的開発計画の策定等を行っている
臨床試験のスケジュールに関するリスク	患者様のエントリーに時間がかかるなどの理由で、臨床試験の完了に想定よりも時間がかかる可能性	経験豊富なCROや患者団体との連携により、患者様にアプローチするチャネルを増やすなどの施策により、患者様エントリーを促進していく
海外におけるアライアンスパートナーに関するリスク	海外の製薬企業とのアライアンス契約に至るまでに予定よりも時間がかかる可能性	外部の専門家を交えて、複数の候補企業にアプローチする体制を構築し、また導出に必要な臨床・非臨床データの整備、特許の強化を図っている
開発競合リスク	LAT1阻害剤の開発を他の製薬企業やバイオテック企業が進めてくる可能性	多発性硬化症などの中枢性の炎症疾患においてはLAT1阻害剤全体をカバーする包括的な用途特許を抑えたり、Best-in-ClassのLAT1阻害剤の開発を進めると同時に、疾患ポートフォリオの多様化を進めることで競合との差別化を図っている
資金・赤字継続リスク	研究開発投資の継続により営業損失・当期純損失が継続する可能性	現金及び預金44.5億円、自己資本比率85.4%を背景に主要開発マイルストーンまでの資金を確保 補助金、提携、ロイヤルティ型ファイナンス等も検討

※当社の事業の運営及び展開等に関するリスク要因として考えられる主な事項の一部につき、その概要とそれに対する当社の対応方針を記載したものであり、当社の事業等に関するリスクを網羅するものではなく、また、これらの諸策の成否には不確実性が存在する。詳細については、目論見書及び有価証券届出書に記載の「事業等のリスク」を参照のこと。

LAT1阻害剤の競合状況

現時点において当社は唯一の臨床ステージのLAT1阻害剤を開発

現在臨床入りしているLAT1阻害剤は当社のナンブランラトとJPH034の2剤のみ（2026年6月時点当社調査）

LAT1が関連する 開発品・製品名	開発品・製品の概要	当社のLAT1阻害剤との競合性
TLX101	LAT1を介し細胞内へ取り込まれるが、放射性核種の殺細胞効果に依存し抗腫瘍効果を発揮するもの	いずれもLAT1を介した細胞内取り込み後、LAT1機能阻害以外のメカニズムで殺細胞的に作用する
Steboronine	LAT1を介したホウ素キャリアの細胞内取り込み後、中性子照射により殺細胞効果を発揮する 中性子照射部位を厳密に計算するため、局所使用のみが承認されている	抗がん作用として、作用メカニズムや副作用の考え方、利便性も異なるアプローチであり、直接の競合性は低いものと考えられる また、自己免疫疾患など、殺細胞効果が好ましくない疾患では競合しない
QBS72S	LAT1発現細胞内へ優位に取り込まれるが、殺細胞効果や薬理プロファイルは従来型アルキル化薬と考えられる	
国内のベンチャーが開発するLAT1阻害剤	LAT1タンパクとの結合情報が中国の研究チームから発表されており、ナンブランラトと類似の基質競合型阻害剤であると捉えられる In Vitro 薬効や薬物動態プロファイルなどは、スイスの研究チームが近い類似体として報告しており、当該ベンチャーの開発化合物のプロファイルと近い可能性がある 現時点で、出願特許は審査請求中である	公知の情報から、当社開発品二剤のプロファイルを踏まえた上で、現対象疾患での競合性は極めて低いものと考えられる また、当社次世代LAT1阻害剤シリーズにおいても、その構造差異や薬物動態・曝露プロファイルから、近い将来に直接的な競合に至る可能性は限定的であると考えられる また、先行二剤で獲得した臨床移行経験（動物→ヒト）、臨床経験、当局対応におけるナレッジを活かすことにより、差別化は十分可能と考えられる

※特許出願後約18か月間は原則非公開であるため、潜在的な競合出願や開発動向の把握には限界があり、上記に記載のない未知の競合リスクの存在は否定できない

ディスクレームー

- 本プレゼンテーション資料は、関連情報の開示のみを目的としてジェイファーマ株式会社（以下「当社」といいます。）が作成したものであり、米国、日本国又はそれ以外の一切の法域における有価証券の買付け又は売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。米国、日本国又はそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録若しくは届出又はこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集又は販売を行うことはできません。
- 当社は、当社以外の事項・組織等に関する情報については、当社が入手可能なあらゆる情報につき、その真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としていますが、その真実性、正確性あるいは完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。
- 本プレゼンテーション資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本プレゼンテーション資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、第三者が、その他の目的で公開又は利用することはできません。
- 将来の業績に関して本プレゼンテーション資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。将来予想に関する記述には、これに限りませんが「信じる」、「予期する」、「計画」、「戦略」、「期待する」、「予想する」、「予測する」又は「可能性」や将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます。
- 将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績は将来に関する記述に明示または黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。したがって、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。
- 本プレゼンテーション資料に記載されている当社以外の企業等に関する情報及び第三者の作成に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、そのデータ・指標等の正確性・適切性等について、当社は独自の検証は行っておらず、何らその責任を負うことはできません。
- 本資料は2026年6月時点の情報に基づき更新しております。
- 本資料のアップデートは今後、2027年6月頃を目途として行う予定です。

専門用語説明 (1/4)

用語	説明
1次療法/2次療法/3次療法	疾患に対して最初に行う治療を1次療法とし、効果不十分または再発時に順次行われる治療を2次療法、3次療法と呼ぶ。
AUC Accumulated AUC	Area Under the Curve (血中濃度時間曲線下面積) の略で、血中の薬物濃度が時間とともに変化するグラフにおいて、時間軸と薬物濃度曲線で囲まれた面積のことである。この面積が大きいほど、体内に取り込まれた薬物の総量が多いことを示し、薬剤の生体利用率 (バイオアベイラビリティ) を比較する際の重要な指標となる。Accumulated AUC は、繰り返し投与などにより得られる各投与後のAUCを積み重ねた総和のことである。
Best-in-Class	既存の作用機序に基づきながらも有効性・安全性・利便性を高め、臨床性能や製剤面で最適化されることにより、より高い治療価値を実現する薬剤を指す。
BTK阻害剤	B細胞受容体シグナル伝達に関するブルトン型チロシンキナーゼ (BTK) の働きを阻害し、異常なB細胞の増殖や活性化を抑制する薬剤である。
Cmax	薬を投与した後に血中に到達する濃度の中で最も高い「最高血中濃度」を指す。これは薬の有効性や安全性と関連があり、同じ薬でも製剤が異なればCmaxが異なる場合があり、製剤の比較や生物学的同等性 (BE) の評価に用いられる薬物動態の重要な指標である。
CMC	Chemistry, Manufacturing and Controlの略で、化学・製造・品質管理を指す。
CMO	Contract Manufacturing Organization (医薬品製造受託機関) の略で、製薬会社から依頼を受けて医薬品 (治験薬や市販薬) の製造を受託する専門企業を指す。
CRO	Contract Research Organization (医薬品開発業務受託機関) の略で、医薬品・医療機器の開発を行う製薬会社などから依頼を受けて臨床試験に関する業務の一部または全部を受託する専門企業を指す。
EMA	EMA (European Medicines Agency、欧州医薬品庁) は、EU域内で医薬品の安全性と有効性を科学的に評価し、承認や監視に関する勧告を行う機関である。
FDA	FDA (Food and Drug Administration、米国食品医薬品局) は、医薬品・医療機器・食品などの安全性と有効性を規制・監督する米国の連邦機関である。
First-in-Class	新しい作用機序を持ち、これまで治療法が十分に確立されていない疾患領域に挑むことで、医学のフロンティアを切り拓く革新的な薬剤を指す。
ICI	Immune Checkpoint Inhibitor (免疫チェックポイント阻害剤) の略で、がん細胞が利用する免疫抑制機構 (いわゆる“ブレーキ”) を阻害し、免疫細胞の攻撃力を回復させることで抗腫瘍効果を発揮する薬剤を示す。がん免疫療法の代表的な新しい治療薬の一つとされている。
IND	IND (Investigational New Drug application、治験届出) は、新薬の臨床試験を開始するためにFDA等の規制当局へ提出する申請である。
in silico	コンピュータを用いたシミュレーションや解析によって、薬剤候補の探索や最適化を行う技術の総称である。分子ドッキングや構造ベース創薬、機械学習による予測モデルなどを用いて、実験前に標的分子との相互作用や薬効・副作用の可能性を評価できる点が特徴である。
in vitro	生体外、すなわち試験管や培養系などの人工的環境下で実施される実験条件を指す。
KRAS変異大腸がん	大腸がんは、RAS遺伝子 (KRAS, NRAS, HRAS) に変異がない野生型と変異がある変異型に分けられる。KRAS変異大腸がんは、大腸がんの約35-40%を占め、大腸がんの有効な治療法の一つである抗EGFR抗体薬の効果がない。
MRI	磁気共鳴画像法 (Magnetic Resonance Imaging) であり、磁場と電波を用いて体内構造を非侵襲的に描出する画像診断法。
mTOR経路	細胞の成長や代謝、増殖、そして生存を制御する中心的なシグナル伝達経路のことを表す。栄養 (アミノ酸やグルコース)、エネルギー状態、成長因子などの刺激を感知し、タンパク質合成や自食作用 (オートファジー) の調節を通じて、細胞機能を最適化する。この経路の異常は、がん、糖尿病、神経疾患など多くの病態と関連しており、mTOR阻害薬 (例: ラパマイシンやその誘導体) は臨床的にも重要な治療薬となっている。
NAT2	N-アセチルトランスフェラーゼ2をコードする遺伝子であり、特定薬物の代謝能に個人差を生じさせる要因となる。
PD-1/PD-L1抗体	がん治療に用いられる代表的な免疫チェックポイント阻害剤の一種である。免疫細胞の抑制に関わるPD-1またはPD-L1の働きを阻止することで、がん細胞が免疫から逃れる仕組みを解除し、免疫応答を高める薬剤である。
PFS	Progression-Free Survival (無増悪生存期間) の略で、治療中 (治療後) にかんが進行せず安定した状態である期間のことである。
POC	Proof of Conceptの略で、研究開発において仮説や新しい治療法の有効性・安全性について、初期段階でその実現可能性を示すための概念や検証プロセスを指す。創薬の分野では、臨床試験の早期 (主に第2相試験) で新薬候補が実際に患者に効果を示すかを確認し、開発を継続するかどうかを判断する重要な節目となる。

専門用語説明 (2/4)

用語	説明
QTc	QTc（補正QT時間）とは、心電図で測定されるQT時間を心拍数で補正した指標である。QT時間は心室が興奮してから興奮を回復するまでの時間を示すが、心拍数によって変動するため、QTcを用いて心拍数の影響を排除し、心臓の再分極時間（電気的回復時間）を比較する。QTcの延長は重篤な不整脈（トルサード・ド・ポアンツなど）のリスクと関連するため、薬剤の安全性評価において重要な指標とされている。
SBDD	Structure-Based Drug Design：構造ベース創薬の略。標的タンパク質の立体構造情報を活用して、分子設計・化合物最適化を行う創薬手法。
Treatment Beyond Progression	がん治療で薬が効かなくなり、病状が進行した（PD：Progression Disease）状態になった後も、従来の抗がん剤投与を継続したり、新たな薬剤を追加投与したりする治療法を指す。特に免疫チェックポイント阻害剤では、見かけ上の一時的な進行（仮想進行）がみられる場合があり、真の治療効果の持続や追加効果を期待して行われることがある。
T細胞/B細胞	B細胞はリンパ球の約20-40%を占め、体内に侵入した病原体を排除するために必要な抗体を作り出し、体液性免疫に関わる。T細胞はリンパ球の60~80%を占め、自らが働き、体を防御するとともに、一度侵入してきた病原体を記憶し、それに基づいてすばやく対応し、排除する働きを持つ。
WET実験設備	試薬・細胞・生体分子などの実際の“濡れもの”を扱う実験に必要な装置や環境を指す。具体的には、クリーンベンチ、インキュベーター、遠心機、顕微鏡などが含まれ、生命科学や創薬研究において欠かせない設備である。
アルキル化薬	DNAの構造に化学的な変化（アルキル化）を起こすことで、細胞の増殖を抑えたり死滅させたりする抗がん剤の一種。DNAが損傷すると細胞は正常に分裂できなくなるため、特にがん細胞のように活発に増殖する細胞に対して効果を発揮する。
医師主導治験	製薬企業ではなく、医師または医療機関が治験の主体となり、企画・実施・管理を行う治験。
維持療法	導入療法等により一定の治療効果（奏効、病勢安定等）が得られた後に、その効果の維持や再発・増悪の遅延を目的として、治療強度を調整しつつ継続して行う治療。
大型中性アミノ酸	分岐鎖アミノ酸（ロイシン、イソロイシン、バリン）や芳香族アミノ酸（フェニルアラニン、チロシン、トリプトファン）等の、側鎖が比較的大きく電荷を持たない（中性の）アミノ酸の総称。これらは共通の輸送担体を介して腸管吸収や血液脳関門通過を行うことがある。
オーファンドラッグ	患者数が少ない希少疾病を対象として開発され、各国の制度により開発支援や優遇措置が与えられる医薬品。
オープンラベル試験	被験者および試験担当者の双方が投与される治療内容を把握した上で実施される臨床試験。
化学療法	抗がん剤などの化学物質を用いて、がん細胞の増殖抑制または死滅を図る治療法。
基質予測	標的タンパク質がどの分子（基質）と相互作用するかを、計算科学や実験的手法を組み合わせて推定する技術です。基質特異性の理解は、薬理作用や副作用の予測に直結する。
クライオ電子顕微鏡（cryo-EM）	生体分子や細胞構造を凍結したまま観察できる電子顕微鏡技術である。試料を急速凍結して水分を氷晶化させずに保存することで、タンパク質や複合体をほぼ生理的な状態で高分解能に解析できる。近年は構造生物学や創薬研究において、X線結晶構造解析やNMRに並ぶ強力な手法として注目されている。
グリオーマ	神経膠細胞由来の原発性脳腫瘍の総称であり、悪性度に応じて複数の分類が存在する。
クリプトポケット（Cryptic Pocket）	タンパク質の立体構造上では通常は閉じている、あるいは目に見えないものの、分子の結合や構造変化によって一時的に形成される“隠れた結合部位”を指す。
血液脳関門	血液中の物質が脳へ移行するのを選択的に制御する防御機構である。
血管新生	既存の血管から新たな血管が形成される生理的または病理的過程であり、腫瘍の増殖や転移に関与する。
構造活性相関	化合物の構造変化が薬理活性に与える影響を体系的に解析し、活性向上や選択性改善につながる要因を明らかにする創薬手法。
構造決定	X線結晶構造解析やクライオ電子顕微鏡、NMRなどの手法を用いて、標的タンパク質の立体構造を明らかにすることである。これにより、分子の機能理解や創薬標的としての有用性評価が可能となる。
サイトカイン	主に免疫細胞から分泌されるタンパク質で、細胞間の情報伝達を行う生理活性物質の総称である。炎症反応の調節や免疫細胞の活性化・誘導など、生体防御において重要な役割を果たす。
殺細胞効果	放射性核種は、放出する放射線によって細胞内のDNAや重要な分子を損傷させ、細胞の機能を失わせたり死滅させたりする作用を持つ。これを殺細胞効果と呼ぶ。
サブグループ解析	全体集団を特定の背景因子に基づいて分割し、各部分集団における治療効果を検討する解析。

専門用語説明 (3/4)

用語	説明
視覚誘発電位 (VEP)	視覚刺激により誘発される視覚路（網膜から視覚野まで）の電気生理学的反応を、頭皮上電極で記録する検査であり、主に潜時や振幅等を指標として評価される。多発性硬化症では視神経炎等に伴う視覚路の伝導変化が反映され得ることから、視覚路障害の客観的把握や病態評価の補助として、探索的又は補助的評価項目に用いられる場合がある。
自己免疫疾患	細菌やウイルス、腫瘍などの自己と異なる異物を排除するための役割を持つ免疫系が、本来の働きをせずに自分自身の正常な細胞や組織に対してまで過剰に反応し攻撃を加えてしまうことで異常を来す疾患の総称。関節リウマチ、全身性エリテマトーデス、シェーグレン症候群などに代表される膠原病、多発性筋炎、多発性硬化症等の全身性自己免疫疾患と、自己免疫性溶血性貧血、潰瘍性大腸炎、バセドウ病、橋本病等の臓器特異的自己免疫性疾患の2種類がある。
軸索	神経細胞から他の細胞へ電気信号を伝える細長い突起である。
シスプラチン/ゲムシタピン	シスプラチンおよびゲムシタピンを併用して用いられる代表的な化学療法レジメンである。シスプラチンは白金製剤としてDNA架橋形成を介し腫瘍細胞の増殖を阻害し、ゲムシタピンは代謝拮抗薬としてDNA合成を阻害する。両剤は作用機序が異なることから併用による抗腫瘍効果の増強が期待され、各種固形がんにおいて標準治療の一つとして位置付けられている。
腫瘍微小環境	腫瘍細胞の周囲に存在する血管、免疫細胞、線維芽細胞、細胞外基質、サイトカインなどを含む環境のことを指す。これらは腫瘍の増殖や転移、さらには薬剤感受性に大きな影響を与えるため、がん研究や治療標的として重要視されている。
主要評価項目	臨床試験において、治療効果を判断するために最も重要と位置付けられた評価指標。
神経炎症性疾患	中枢神経系または末梢神経系に炎症が生じ、神経機能障害を引き起こす疾患群。
スキヤフォールドホッピング	創薬研究において既存化合物の骨格（スキヤフォールド）を別の構造へ置き換えることで、同等またはそれ以上の薬理活性を維持しつつ、新たな化合物を創出する手法。このアプローチは、企業戦略上および科学的メリットから、製薬・バイオ企業において重要な創薬技術として位置付けられている。
全生存期間	治療開始から死亡（あらゆる原因による死亡を含む）までの期間を指す。英語ではOverall Survivalという。治療の効果を直接的に反映する指標であり、がん領域などで最も重要な評価項目のひとつとされている。
阻害剤スクリーニング	標的タンパク質の活性を抑える化合物を探索する過程である。ハイスループットスクリーニングやバーチャルスクリーニングを用いて候補分子を選び出し、リード化合物の発見へとつなげる。
組織分布	投与された薬物が血流を介して体内の各組織や臓器へ移行し、どの程度かつどの時間経過で分布・滞留するかを示す薬物動態上の特性。
脱髄	脳や脊髄、視神経といった神経系の神経線維を包む「さや」（髄鞘）の部分に起こる炎症により髄鞘が消失し、さまざまな神経症状が生じる。
中性子照射	電荷を持たない中性子を生体に照射する技術で、がん治療などに利用される。特にホウ素中性子捕捉療法（BNCT）では、がん細胞に取り込まれたホウ素に中性子を当てることで核反応を起こし、がん細胞を選択的に破壊する。正常組織への影響を抑えた高精度な治療法。
統計的有意	解析により観察された群間差または効果が、あらかじめ設定した有意水準に基づき、偶然によって生じた可能性が低いと統計学的に判断される状態を表す。
トレブルチニブ	フランスのSanofi S.A.が開発中の中枢神経系疾患向け経口投与型BTK阻害剤。BTK（Bruton型チロシンキナーゼ）を標的とすることで、免疫細胞の活性化や炎症反応の制御を介した治療効果が期待されている。
二重盲検ランダム化プラセボ比較試験	被験者および治療・評価を担当する医師等の双方が、実薬またはプラセボの割付内容を認識しない二重盲検下で、被験者を無作為に各群へ割り付け、有効性および安全性を客観的に比較評価する臨床試験。観察者バイアスや被験者の期待効果を最小化できることから、医薬品の有効性検証において信頼性の高い試験デザインとされる。
バイスベシフィック抗体	2種類の異なる抗原またはエピトープに同時に結合可能な抗体であり、免疫細胞の活性化などを目的として開発される。
バーチャルスクリーニング	計算科学・AI技術を用いて、数百万～数十億規模の化合物候補から標的タンパク質に結合する可能性の高い分子を高速かつ効率的に選別する創薬手法。従来の実験的スクリーニングと比べ大幅に低コスト・短時間で有望化合物を探索できるメリットがある。
非臨床試験	ヒトを対象とせず、動物試験や試験管内試験により医薬品の有効性や安全性を評価する試験。
物質特許	化合物や医薬品そのものの構造に対して付与される特許であり、最も広範な権利範囲を有する。
プラセボ	見た目や味は薬と同じで薬効成分を含まないものを示す言葉で、偽薬とも呼ばれる。本来は薬としての効果をもたないプラセボを服用し得られる効果を差し引いて、本当の意味での薬の有効性を科学的に明らかにするために、臨床試験で使用される。
プラチナ製剤	白金を含有する抗悪性腫瘍薬の総称であり、DNAに結合して架橋を形成することで細胞分裂を阻害し、腫瘍細胞の増殖抑制を示す。

専門用語説明 (4/4)

用語	説明
放射性核種	放射性核種とは、不安定な原子核を持ち、自然に放射線を放出しながら別の元素に変化していく物質のことである。医薬分野では、この性質を活用し、病気の診断やがんの治療に応用されている。診断では体内に投与して放射線の分布を画像化し、治療では標的とするがん細胞に集積させて放射線で破壊する。これにより、正常組織への影響を抑えた高精度な診断・治療が可能となる。
ホウ素キャリア	がん細胞にホウ素（Boron）を選択的に運ぶための化合物。主にホウ素中性子捕捉療法（BNCT：Boron Neutron Capture Therapy）で使用される。BNCTでは、ホウ素を含む薬剤を体内に投与し、がん細胞に集積させた後、中性子を照射することでホウ素原子が核反応を起こし、強力な放射線を発生させてがん細胞を破壊する。
ミクログリア	神経回路の活動の恒常性を担うグリア細胞の一種であり、中枢の免疫担当細胞として知られ、中枢神経系に存在する常在性マクロファージとも呼ばれる。
無作為割付	臨床試験において、被験者を治療群や対照群へ偶然性に基づいて割り付ける手法である。背景因子の偏りを最小化し、群間の比較可能性を確保することで、治療効果や安全性評価の信頼性を高めることを目的とする。
モダリティ	創薬研究におけるモダリティ（modality）とは、治療に用いる薬の種類や作用様式を分類する概念を指す。代表的なものとして、化学合成された低分子医薬品、標的に高い特異性で結合する抗体医薬品、mRNAやsiRNAなどによる核酸医薬、タンパク質と低分子の中間的特徴を持つペプチド医薬、さらにCAR-T細胞や遺伝子編集を活用した細胞・遺伝子治療などが挙げられる。
用途特許	既知物質について、新たな医療用途や使用方法に関して取得される特許。
リンパ球	免疫系を構成する白血球の一種であり、主にT細胞、B細胞、NK細胞からなる。
リンパ節転移	悪性腫瘍細胞が原発巣からリンパ管を介して移動し、所属リンパ節または遠隔リンパ節に定着・増殖する現象。がんの進行度評価や予後判定において重要な指標とされる。

ナンブランラトの臨床開発をリードする主要な医師のコメント（原文）



Dr. Ghassan K. Abou-Alfa, MD, JD, MBA, PhD

- **Memorial Sloan Kettering Cancer Center, Professor of Medicine**
- **Led multiple global registrational studies in BTC¹**

Principal Investigator & Chair of Steering Committee for Global Phase 3 of nanvuranlat

Validated second line therapies in biliary tract cancers remain limited to patients with certain genetic alterations that would not make more than 20% of patients at most. Therefore, the need for novel approaches of therapy. LAT1 (SLC7A5), a target closely correlated with metastasis and worse outcome. Nanvuranlat is a selective inhibitor of LAT1 with demonstrated its potential impact in the preclinical models of BTC and in a phase 2 clinical trials with impressive PFS improvement and an OS HR favoring it. Thus, the necessity for the proposed phase 3 that we at MSK look forward to contribute to and lead globally.



Dr. Eric Rowinsky, M.D.

- **Cancer Therapeutic Development and Regulatory Consultant**
- **Intimately involved with registration of 12+ cancer therapies including leading registration of 5 therapies in biotech²**

Led protocol design for Global Phase 3 of nanvuranlat, Advisor for J-Pharma

J-Pharma has had the courage to follow the science of the LAT1 transporter, much of which was developed by the company and its collaborators. The significance of LAT1 is reflected by its diverse roles in normal tissue function and in the pathology of diseases like cancer and multiple sclerosis. J-Pharma recognized the importance of LAT1 and designed nanvuranlat to selectively and potently inhibit the target. Importantly, J-Pharma identified biliary tract cancer as a lead indication for nanvuranlat, which has proven to be correct, meeting the primary endpoint of a randomized phase 2 study that is serving as the foundation for a pivotal phase 3 trial to register the drug. I hope that these bold efforts will result in the first new therapy for BTC.

Source :

1. example: Abou-Alfa GK, et al. JAMA Oncology. 2020;6(9):e201235. Abou-Alfa GK, et al. Lancet Oncology. 2020;21(5):671-684. Abou-Alfa GK, et al. Lancet Gastroenterology & Hepatology. 2021;6(10):803-815., etc.
2. example: Uniphar Development corporate website (<https://rrdbiotech.com/our-team/> Accessed February 18, 2026), etc.