

米国製薬業界週報

目次	
インタビュー	P2
精密なRNA送達による次世代遺伝子医薬の開発	
行政関連ニュース	P4-5
FDA、レボリレーションのラソナクを承認 メルクとアストラゼネカ、IRA訴訟で相次ぎ敗訴 FDA、プリオバントのリスラヤを承認	
製薬企業ニュース	P6-7
中国ハイスコ、米国拠点企業を通じ自社開発品を世界へ 韓国ハンミ、ジェネンテックとライセンス契約 バイオハイブとSKバイオファーマスーティカルズが提携	
バイオテクニュース	P8
ジェネンテック、中国デュアリティと提携	
研究ニュース	P8
サプライズ請求禁止法の調停関連総コスト、4年で224億ドル	

本週報に関するご意見・特集記事へのリクエストなどをお寄せ下さい。

MSAパートナーズは、日米間のコミュニケーションを目指す日本の製薬業界を、市場調査・リサーチ・コンサルティングなどあらゆる面からサポートします。



細胞・遺伝子治療を肝臓の先へ届ける インビボCAR-T細胞療法の実現を左右する次世代送達技術

患者自身のT細胞を用いる自家キメラ抗原受容体T (CAR-T) 細胞療法は、これまでに7剤がFDA承認を取得しているが、これらはすべて、患者から採取したT細胞を生体外 (エクスピボ) で遺伝子改変・増殖させるものであり、複雑な製造工程に依存している。

それに対し、エクスピボCAR-T細胞療法の課題を克服する新たなアプローチとして関心を集めるのが、患者の体内でT細胞を直接改変する生体内 (インビボ) CAR-T細胞療法だ。大手製薬企業も同領域に注目し、近年は大型買収取引が相次いでいる (表)。

エクスピボ療法の成功と限界

エクスピボCAR-T細胞療法では、患者からT細胞を採取し、キメラ抗原受容体 (CAR) を導入してCAR-T細胞に改変した後、増殖させて再び体内に戻す。CAR-T細胞の製造には約3～4週間を要し、患者1人当たりの費用は通常約40万ドル、場合によっては100万ドルを超えるとの報告もある。

改変したCAR-T細胞を患者の体内に戻すにあたっては、リンパ球除去療法が必要となり、患者への負担が大きい。サイトカイン放出症候群 (CRS) や免疫エフェクター細胞関連神経毒性症候群 (ICANS) などの重篤な毒性が生じることもある。高い治療効果がある一方、こうした製造上の制約や患者への負担が、エクスピボCAR-T細胞療法の普及を阻んできた。

インビボCAR-T細胞療法は、CARをコードする遺伝子ペイロードを患者体内のT細胞に直接届け、体内でCAR-T細胞を作り出す。実現すれば、エクスピボCAR-T細胞療法で必要となる複雑な製造工程を回避し、治療までの時間を短縮でき、患者アクセスを改善できるオフザシェルフ (off-the-shelf) 製品につながると期待される。

2024年7月にインテリウス・バイオセラピューティクス (Interius BioTherapeutics) がオーストラリアで世界初のインビボCAR-T細胞療法の臨床試験開始に向けた認可を得たと発表した。同社は同年10月、B細胞悪性腫瘍患者を対象としたフェーズI試験で最初の患者への投与を開始した。さらに2025年9月には、中国の研究グループが、難治性の全身性エリテマトーデス (SLE) 患者5例を対象としたCD19標的インビボCAR-T細胞療法の臨床データを報告した。

このように、試みはまだ初期の臨床開発段階にあるものの、患者体内でCAR-T細胞を生成してB細胞を減少させるアプローチは、ヒトでの検証が進んでいる。

組織指向性を操る次世代LNP

インビボCAR-T細胞療法では、CARをコードするDNAやメッセンジャーRNA (mRNA) を体内に送達するため、レンチウイルスなどのウイルスベクターや脂質ナノ粒子 (LNP) が利用されている。mRNA

インビボCAR-T細胞療法領域における大手製薬企業による主な買収取引

買収企業	被買収企業	取引発表日	内容
AstraZeneca	EsoBiotec	2025年3月	レンチウイルスベクターを用いたB細胞成熟抗原 (BCMA) 標的インビボCAR-T細胞編集療法候補と関連技術を獲得
AbbVie	Capstan Therapeutics	2025年6月	CD19 CARをコードするmRNAをLNPに封入したインビボCAR-T細胞療法候補と関連技術を獲得
Gilead/Kite Pharma	Interius BioTherapeutics	2025年8月	レンチウイルスベクターを用いてCAR20導入遺伝子を送達するインビボCAR-T細胞療法候補を獲得
BMS	Orbital Therapeutics	2025年10月	標的化LNPと環状RNAを用いたCD19標的インビボCAR-T細胞療法候補を獲得
Eli Lilly	Orna Therapeutics	2026年2月	標的化LNPと環状RNAを用いたCD19標的インビボCAR-T細胞療法候補を獲得
Eli Lilly	Kelonia Therapeutics	2026年4月	レンチウイルス由来ベクター粒子を用いたBCMA標的インビボCAR-T細胞療法候補と関連技術を獲得

注：会社名のカタカナ表記は省略。

出典：企業情報を基にMSA作成

を搭載したLNPの場合、CARの発現が速やかに誘導される一方、その発現は一過性となる。

LNPは、リン脂質、コレステロール、PEG脂質、イオン化脂質(ionizable lipid)の4成分で構成される。なかでもイオン化脂質は、RNAの細胞内への取り込みや細胞質への放出を助ける重要な成分である。

全身投与されたLNPは、血中でタンパク質と結合する。特にアポリポタンパク質E(ApoE)と結合すると、LNPはApoEを介して肝細胞の低密度リポタンパク質(LDL)受容体に認識され、肝細胞に取り込まれやすくなる。この特性は、肝臓を標的とする

RNA医薬では利点となるが、T細胞や腎臓など肝外の細胞・組織への送達には障壁となる。このため、LNPの組織指向性(tropism)を制御し、肝臓以外の細胞・組織へRNAを届ける次世代LNPの開発が進められている。

ナヴァ・セラピューティクス(Nava Therapeutics、以下ナヴァ)は、独自のイオン化脂質によってLNPの組織指向性を制御するRNA送達に取り組むバイオテック企業の1社だ。ナヴァは5月に開催された米国遺伝子・細胞治療学会(ASGCT)の年次総会で、CD19標的インビボCAR-T細胞療法プログラムNT-001の前臨床データを発表した。肝臓への蓄積を抑

えた独自のLNPを用いることで、ヒト化マウスおよび非ヒト霊長類においてB細胞の大幅な減少が確認された。また、非ヒト霊長類ではCARの一過性発現が認められたほか、肝毒性やCRSは見られず、良好な忍容性が示されたという。

ナヴァはASGCTで、全身投与によって腎臓への効率的な遺伝子導入と遺伝子編集を可能にするLNPについても、有効性を示す前臨床データを発表した。次世代LNPの開発では、こうした組織選択的な送達を安全かつ確実に実現し、再現性のある治療効果を臨床試験でいかに実証できるかが今後の鍵となる。◆

インタビュー

精密なRNA送達による次世代遺伝子医薬の開発

ナヴァ・セラピューティクスCEO フェデリコ・ミンゴッツィ博士

マサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置くナヴァ・セラピューティクス(Nava Therapeutics、以下ナヴァ)は、独自の脂質ナノ粒子(LNP)を用い、標的とする臓器や細胞へRNA医薬を高い精度と効率で届ける新たな遺伝子医薬クラスの開発を目指すバイオテック企業だ。CEOのフェデリコ・ミンゴッツィ博士に、生体内(インビボ)キメラ抗原受容体T(CAR-T)細胞療法の台頭を後押しする技術革新と治療の有用性、RNA送達における同社のアプローチ、そして長期的ビジョンについて聞いた。

——大手製薬企業によるインビボCAR-T細胞療法への投資が相次いでいます。その背景にある技術革新は何だとお考えですか。

ミンゴッツィ 生体外(エクスピボ)CAR-T細胞療法はすでに、病原性細胞集団を標的として除去することで、疾患の進行を抑制できることをがん分野で実証しています。また、自己免疫疾患でも有望性が示されています。ゲオルク・シェット博士の最近の研究により「免疫リセット」という概念が確立されました。これは、エクスピボCAR-T細胞による深いB細胞枯渇とナイーブB細胞の再構成によって、

さまざまな自己免疫疾患で持続的な寛解が得られることを示すものです。

一過性のメッセンジャーRNA(mRNA)を用いるインビボCAR-T細胞療法は、CARの発現も一時的となります。そのため、CAR-T細胞が長期間残存するリスクをとまわず、B細胞を一時的に枯渇させることで、自己限定的な免疫リセットを達成するのに適しています。エクスピボCAR-T細胞療法で必要となる複雑で高コストかつ長期にわたる個別化細胞製造工程を、コンディショニング不要でスケーラブルなオフザシェルフ製品に置き換えられるため、医療コストの抑制と患者アクセスの改善も期待できます。

最近まで、インビボCAR-T細胞療法は理論上の可能性にとどまっていました。標的となる免疫細胞に十分な特異性と効率で、体内で直接(in situ)遺伝子を導入できる送達プラットフォームがなかったためです。しかし現在は、新たな送達技術によって現実味を帯びています。

RNAを用いた細胞療法では長年、mRNAペイロードを肝臓やその他臓器に捕捉されることなく、適切な細胞種へ適切な用量で届けることが課題

でした。近年はイオン化脂質の設計やLNPのエンジニアリングの進歩により、こうした送達が可能になりました。

前臨床研究では、低用量のLNPで標的外への取り込みを最小限に抑えながら、体内のT細胞に遺伝子を直接導入できることが示されており、より安全な臨床応用への道が開かれたといえます。

今回の投資の波は、送達という課題の解決が現実味を帯び、治療原理をエクスピボCAR-T細胞療法よりもはるかに多くの患者に届けられる、スケーラブルで再投与可能な治療へ発展させられるとの見方を反映したものと考えています。

これこそがナヴァの取り組む領域です。最近、米国遺伝子・細胞治療学会(ASGCT)の年次総会で、当社のインビボCAR-T細胞療法が非常に低いLNP用量で、高いT細胞特異性を維持しながら、安全かつ効率的に生体内でCARを誘導できることを示すデータを発表しました。

——肝臓以外の標的組織にRNA医薬を届けるナヴァのLNPプラットフォームは、次世代RNA医薬の差別化要素になるでしょうか。

ミンゴッツィ 送達技術はこれまで、遺伝子医薬の可能性を実現するうえで最大の障壁でした。現在は、mRNA、低分子干渉RNA (siRNA)、DNA、遺伝子編集酵素など、利用可能な治療用ペイロードの選択肢が広がっています。当社は、事実上あらゆる遺伝子カーゴを標的細胞へ送達できる非ウイルス性システムの開発を目指しています。

これまでの細胞・遺伝子治療製品の開発経験から、精密な送達は安全性を担保するうえで極めて重要だと考えています。標的外の組織への分布や意図しない組織の改変は、毒性や免疫原性を引き起こし、時に有害事象につながります。また、精密な標的化により、低用量化と治療域の拡大も可能になります。従来の細胞・遺伝子治療製品では、効果を得るために高用量が必要で治療域も狭く、これが毒性の主因でした。精密な標的化は、この問題を直接解決できます。

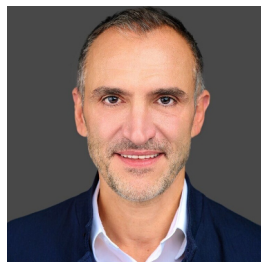
次世代の遺伝子医薬の成否を分けるのは、必要なペイロードを体内の標的細胞に正確に届ける能力になるでしょう。リンパ組織や腎臓など、これまで到達が難しかった臓器へ再現性と特異性をもって届けられれば、新たな治療の可能性が広がります。

次世代の遺伝子医薬を左右するのは、必要なペイロードを体内の標的細胞に正確に届ける能力になるでしょう。リンパ組織や腎臓など、これまで到達が難しかった臓器にも、特異性を保ちながら再現性よく届けられるプラットフォームが実現すれば、新たな治療の可能性が広がります。

私たちは、化学設計、ハイスループット・スクリーニング、生物学的知見を緊密に統合したプラットフォームで、これを実現しています。このプラットフォームにより、安全性と有効性に優れ、特定の組織や細胞種への指向性を備えたLNPを作製するための新規イオン化脂質を同定しています。

——**ナヴァの長期的な事業戦略として、治療薬開発企業と送達プラットフォーム企業のどちらを目指すのでしょうか。**

ミンゴッツィ ナヴァはプラットフォーム



フェデリコ・ミンゴッツィ博士

フォーム企業としてスタートしましたが、治療薬開発企業を目指しています。インビボCAR-T細胞療法や、現在取り組みを広げている腎疾患領域は、私たちが実現できることを示す例であり、当社のLNPプラットフォームによって効率的な送達が可能になった領域の一部にすぎません。小規模な企業なので、特に治療への応用と臨床への橋渡しでは、取り組みを絞り込む必要があります。今後はパイプラインを拡充し、医療上のアンメット・ニーズに対応するために当社のプラットフォームを活用していきます。また、送達技術の可能性を最大限に引き出すため、社内での研究開発に加え、ほかのバイオ製薬企業との提携も模索したいと考えています。

——**インビボCAR-T細胞療法の実用化に向けた、重要なマイルストーンは何でしょうか。**

ミンゴッツィ インビボCAR-T細胞療法を実用的な治療モダリティにするには、安全性、有効性、効果の持続性、再投与の可能性に加え、特定の患者集団における治療結果の予測可能性、コスト、患者アクセスといった課題をクリアする必要があります。これらはすべて相互に関連しており、当社はその実現に近づいていると考えています。

前臨床データでは、すでに有望な兆候を得ています。非ヒト霊長類において、サロゲートとなるインビボCD20 CAR-T細胞療法を用いた試験では、0.33mg/kgから始まる幅広い用量範囲で、安全かつ強力なB細胞除去作用を示しました。また、B細胞除去を目的とするCD19標的インビボCAR-T細胞療法候補は、ヒト化マウスモデルでCD20標的CARの約10倍の効

力を示しています。これは非常に興味深く、説得力のある結果です。当社のLNPは高い効力と良好な忍容性を備えるほか、マウスおよび非ヒト霊長類において肝臓への曝露が最小限に抑えられ、肝臓からも速やかに除去されます。これは候補薬の安全性と有効性を支える重要な要素です。

最も重要なマイルストーンは、患者に全身投与されたRNAベースのインビボCAR-T細胞療法が、許容可能な安全域を確保しながら標的細胞を持続的に除去でき、外来診療で実施可能な投与レジメンであること、さらに免疫原性をともなわず安全に再投与できることを示すことでしょう。これにより、アフエーシス、細胞製造、リンパ球除去療法を必要とせず、エクスピボCAR-T細胞療法で実現されている深いB細胞枯渇と免疫リセットを再現できます。これこそが、インビボCAR-T細胞療法を、有望なモダリティから、製薬企業が商業化を見据えた戦略を構築できる治療モダリティへと変えるでしょう。

インビボCAR-T細胞療法は、モノクローナル抗体の利便性と再投与のしやすさ、エクスピボCAR-T細胞療法の高い細胞枯渇作用という両者の長所を一つのモダリティで実現できる可能性があります。私は、この段階にかなり近づいていると確信しています。そして、自己免疫疾患、がん、線維症など、今後インビボCAR-T細胞療法をさまざまな疾患に応用していければと考えています。

プロフィール
Federico Mingozzi, Ph.D.

遺伝子治療、免疫学、生化学、分子生物学の各分野で、産学にまたがる約30年の経験を持つ。これまでにフィラデルフィア子供病院、ジェネトン (Genethon)、スパーク・セラピューティクス (Spark Therapeutics) などで遺伝子医薬の開発プログラムを主導し、代謝性疾患、出血性疾患、遺伝性視覚障害、神経筋疾患など、さまざまな疾患を対象とする遺伝子治療の臨床試験の発展に貢献した。フェラーラ大学 (イタリア) で生化学・分子生物学の博士号を、ドレクセル大学で経営学修士号 (MBA) を取得。

今週の行政関連ニュース

ラソンケ承認の根拠となった
オープンラベル試験の主な結果

評価項目	ラソンケ投与群	標準化学療法群
OS	13.2カ月	6.7カ月

出典：企業情報を基にMSA作成

に延長し、有意な改善が示された。ラソンケはFDAから画期的治療薬指定、希少疾患治療薬指定、ならびに優先審査指定を受けていた。

FDAは5月、未承認薬への患者アクセスを可能にする「利用範囲拡大プログラム(Expanded Access Program)」に基づき、対象となる患者へのラソンケの使用を認める通知をレボリューションに行っていた。

レボリューションはラソンケのリストプライスを、30日分で3万9,800ドル(推奨用量である1日300mgの場合)に設定した。同社はまた、適応となる患者の大半は保険によって費用がカバーされる見込みであるほか、患者自己負担額を0ドルにする患者支援プログラムを展開すると説明している。◆

FDA、レボリューションのラソンケを承認 成人の転移性膵臓がん向け治療薬

FDAは8月26日、レボリューション・メディシNZ(Revolution Medicines、以下レボリューション)のラソンケ(Rasonque、一般名daraxonrasib)について、少なくとも1回の全身療法を受けた、または複数の薬剤を組み合わせた全身療法の対象とならない成人の転移性膵臓がん患者の治療を適応に承認したと発表した。同剤は、国家戦略優先審査バウチャー(Commissioner's National Priority Voucher、CNPV)パイロットプログラムの下、処方箋薬ユーザーフィー法(PDUFA)に基づく審査期日より6.5カ月早く承認された。

ラソンケは1日1回服用する錠剤で、膵臓がん患者の大半で腫瘍増殖を促す主要因子のRASタンパク質の複数の型を標的とする。野生型および変異型のRASタンパク質と、そ

の下流のエフェクターとの相互作用を阻害することで、RASシグナル伝達を抑制する働きを持つ。

国立がん研究所(NCI)によると、米国で毎年新たに診断される約6万7,000件の膵臓がんのうち90～95%は膵臓がん。すべてのがん診断件数に占める割合は約3.2%とわずかなが、一般的に発見が遅く、悪性度が高く進行も早いことや、治療選択肢が限られていることから、膵臓がんはがん死に占める割合が高い。

承認の根拠となったのは、治療歴のある500人の転移性膵臓がん患者を対象とした無作為化オープンラベル多施設臨床試験のデータ。同試験で主要評価項目とした全生存期間(OS)の中央値は、ラソンケ投与群が13.2カ月、標準化学療法群が6.7カ月と、ラソンケ投与群で約2倍

メルクとアストラゼネカ、IRA訴訟で相次ぎ敗訴 価格交渉プログラムは合憲、業界側は争点シフトも不利が続く

コロンビア特別区連邦地方裁判所は8月24日、2022年8月成立の「インフレ抑制法(Inflation Reduction Act of 2022、以下IRA)」に基づき創設されたメディケア医薬品価格交渉プログラム(以下、価格交渉プログラム)の実施は不当であるとして、メルク(Merck)が保健福祉省(HHS)およびメディケア・メディケイド・サービスセンター(CMS)を相手取り起こした訴訟で、メルクの訴えを退ける判断を下した。メルクは、プログラムの実施は、財産権の保障などを定めた合衆国憲法修正第5条、ならびに言論の自由を保障する合衆国憲法修正第1条に違反すると主張していた。

メルクは2023年6月、他の大手製薬企業に先駆けて価格交渉プログラムをめぐるIRA訴訟を起こしたが、第一審判決が下されたのは最後となった。アストラゼネカ(AstraZeneca)、ノボノルディスク(Novo Nordisk)など、同様の主張を行ったメルク以外の大手

製薬企業6社はいずれも控訴裁レベルで敗訴。連邦最高裁が今年5月、これら製薬企業による裁量上訴の申し立て(petition for certiorari)を却下したことで、プログラム自体の違憲性を争ったこれらの訴訟では、製薬企業側の敗訴が確定している。

価格交渉プログラムに関する訴訟では、争点がプログラムの一部分の違法性や策定プロセスの適法性へとシフトしている。メリーランド州連邦地裁は8月19日、CMSが価格交渉プログラムにおいて同一の有効成分を含む複数のブランド薬を1品目として扱うことは権限超越にあたるとして、アストラゼネカがHHSを相手取り起こした訴訟で、同社の訴えを棄却した。

現行のガイドラインの下でCMSは、同じ有効成分を含むものであれば、開発時期や剤型、用量、力価、ブランド名が異なっても1品目の単一供給源医薬品(qualifying single source drug、以下QSSD)と

みなし、すべての売上を合算したうえで、価格交渉対象薬とするかどうかを判断する。

ノボノルディスクは、価格交渉プログラムの違憲性を争った裁判において、複数のブランド薬を1つのQSSDとして扱うことについても、CMSの判断は違法であると主張していた。価格交渉プログラムの第1サイクルでは、同社の6種類のインスリン製剤が1品目として選定され、第2サイクルでは、2型糖尿病や肥満症を適応症にウゴービ(Wegovy)、オゼンピック(Ozempic)、リベルサス(Rybelsus)のブランド名で販売される3製品が、セマグルチド(semaglutide)として1品目の扱いで価格交渉対象薬に選定されている。

第二審を担当した第3巡回区控訴裁は2025年10月、ノボノルディスクの主張をすべて退けた一方、QSSDの扱いについては判断を控えた。控訴裁は、価格交渉プログラムの特定の側面に対する司法審査を禁止するIRAの規定を引用し、管轄外であると説明している。◆

FDA、プリオバントのリスラヤを承認 皮膚筋炎治療に初の経口剤が誕生

FDAは8月27日、プリオバント・セラピューティクス (Priovant Therapeutics、以下プリオバント) が開発したリスラヤ (Lisraya、一般名 brepocitinib) を成人における皮膚筋炎の治療を適応に承認したと発表した。

皮膚筋炎は、免疫系が筋肉や皮膚を攻撃する希少な自己免疫疾患で、慢性的な炎症、進行性の筋力低下、特徴的な発疹を引き起こす。

リスラヤは、ヤヌスキナーゼ (JAK/TYK2) を阻害する1日1回経口投与の錠剤。免疫反応や炎症反応に重要な役割を持つJAKシグナル伝達経路を阻害することで、筋肉や皮膚に損傷を与える有害な炎症を抑制する。従来、皮膚筋炎の治療は、慢性的なステロイド療法や非特異的な免疫調節薬、静脈内免疫グロブリンに依存してきたが、いずれも疾患の根本的な病態メカニズムを標的とした治療ではない。リスラヤの承認により、皮膚筋炎を治療する初の経口剤が誕生した。

リスラヤは、皮膚筋炎患者241人を対象とした無作為化二重盲検多施設プラセボ対照フェーズIII試験のデータを基に承認された。主要評価項目は、試験開始52週時点の筋力、身体機能、皮膚およびその他の疾患活動性、筋酵素、ならびに医師と患者による全般的な健康状態の評価を総合し、皮膚筋炎の治療反応を判定する総合改善スコアとされた。その結果、リスラヤ高用量群において、総合改善スコアがプラセボ群を有意に上回った。また、48週時点までに副腎皮質ステロイドの使用量を減らせた患者の割合もリスラヤ群で高かった。

リスラヤには、重篤な感染症、悪性腫瘍、重大な心血管有害事象 (MACE)、血栓症、死亡に関するブラックボックス警告が付記される。一部アナリストは、これは予想されていたものであり、JAK阻害薬クラス全体に共通する安全性プロファイルと一致しているとの見方を示した。◆

FDA、ジャズのジーヒラを胃食道腺がん追加承認 PD-1阻害薬および化学療法との併用療法で

FDAは8月25日、ジャズ・フアーマシューティカルズ (Jazz Pharmaceuticals) のジーヒラ (Zihera、一般名 zanidatamab-hrii) を追加承認したと発表した。

適応は、FDA承認の検査によりHER2陽性 (IHC 3+またはIHC 2+/ISH+) と判定された切除不能な局所進行性または転移性の胃食道腺がん (GEA) 成人患者に対する、フルオロピリミジンおよびプラチナ製剤を含む化学療法ならびにテビムブラ (Tevimbra、一般名 tislelizumab-jsgr) との併用による一次治療と、HER2陽性 (IHC 3+) と判定された同様の成人患者に対する、フルオロピリミジンおよびプラチナ製剤を含む化学療法との併用による一次治療である。テビムブラは、PD-1/PD-L1阻害剤を含まない全身化学療法歴

を有する切除不能または転移性食道扁平上皮がん (ESCC) の成人患者に対する治療薬としてビーワン・メディシズ (BeOne Medicines) が販売する抗PD-1抗体治療薬。

ジーヒラは2024年、前治療歴のある切除不能または転移性のHER2陽性胆道がん (BTC) 成人患者の治療を適応にFDAから迅速承認を受けている。今回の承認により同剤は、PD-L1の発現状況にかかわらず、すべてのHER2陽性進行GEA患者に対してPD-1阻害薬および化学療法との併用で承認された、初めてかつ唯一のHER2標的三重特異性抗体となった。アナリストは、ジーヒラがGEAの適応症だけでピーク時に年間15億ドルを売り上げると予想。ジャズは、全適応症でのピーク売上高を20億ドルと見込んでいる。◆

その他の主なニュース

■FDA、ギリアドのビクスレンボを承認

FDAは8月27日、ウイルス学的に抑制状態にある成人のHIV患者を対象に、ギリアド・サイエンシズ (Gilead Sciences、以下ギリアド) のビクスレンボ (Bixlenvo) を承認したと発表した。

同剤は、ギリアドのHIV治療薬ビクタルビ (Biktarvy) の有効成分の一つであるビクテグラビル (bictegravir) 75mg、スンレンカ (Sunlenca、一般名 lenacapavir) 50mgを配合した1日1回服用の単一錠剤レジメン (STR)。スンレンカはカプシド阻害剤と呼ばれる新規クラスの薬剤で、既存の抗レトロウイルス薬との交差耐性を示さない。

ビクスレンボはHIVを適応症とする既存のSTRを服用できず、複雑な治療レジメンを受けているHIV感染者にとって初のSTRとなる。

■FDA、承認申請における医薬品製造プロセスモデル活用状況を報告

FDAが医薬品承認審査における医薬品製造プロセスモデル (原薬・製剤の製造工程を数式やデータに基づきシミュレーション・予測する数理モデル) の利用状況を調査した結果、2012年から2025年に少なくとも15件の承認申請で同モデルが活用され、承認に至っていた。調査結果は、インターナショナル・ジャーナル・オブ・フアーマシューティクス (International Journal of Pharmaceutics) 誌9月5日号に掲載される。

調査によると、製薬企業8社による15件の申請には、低分子、吸入薬からペプチド、モノクローナル抗体およびそのバイオシミラーが含まれた。このうち11件では、連続生産モデルが含まれており、そのほか、メカニスティックモデル (理論・原理ベース)、経験的モデル (データに基づくモデル)、これらのハイブリッド・モデルなども活用されていた。

FDAは、プロセスモデルに必要な情報量は個々のリスクレベルによって異なると説明している。

今週の企業関連ニュース

中国ハイスコ、米国拠点企業を通じ自社開発品を世界へ免疫領域の医薬品候補をセンチベラにライセンス

中国のハイスコ・ファーマシューティカル(Haisco Pharmaceutical、以下ハイスコ)は8月25日、センチベラ(Sentivera)と独占的ライセンス契約を締結したと発表した。

センチベラは、ポピュレーション・ヘルス・パートナーズ(Population Health Partners、以下PHP)とアーチ・ベンチャー・パートナーズ(ARCH Venture Partners、以下アーチ)のベンチャーキャピタル(VC)企業2社が2025年に設立した米国拠点のバイオテック企業である。合意に基づきセンチベラは、ハイスコが独自開発し、前臨床開発段階に保有する医薬品候補1品目について、大中華圏を除く全世界での開発、製造、および商業化の権利を得る。

医薬品候補の詳細は非公開だが、ハイスコによると免疫領域における同社の中核開発品であり、2型炎症性疾患の発症および進行を抑制する作用を持つ。前臨床試験では、

良好な安全性プロファイルと強い抗炎症作用が確認されており、中国では今月、同剤の治験開始申請(IND)が承認されたという。

ハイスコは、今回の合意は単なる化合物導出とは異なり、センチベラとの提携を通じてPHPとアーチとの戦略的関係を構築し、持続可能なキャッシュフローの創出と長期的な投資リターンを共同で追究する提携モデルであり、グローバル拡大戦略をさらに強化できると説明している。

ハイスコは、契約一時金およびセンチベラの株式をあわせて合計7,589万ドルを受領するほか、医薬品候補の開発や承認、商業化の進捗に応じたマイルストーン金として最大14億6,000万ドルと、製品化後にはロイヤルティを受け取る可能性がある。

PHPとアーチが共同で設立した企業にはほかにも、肥満症および心代謝疾患治療薬の開発を手がけるバイオテック企業のメツセラ(Metsera)

がある。2022年設立のメツセラは2025年11月、ノボノルディスク(Novo Nordisk)とファイザー(Pfizer)による約2カ月にわたる買収争奪戦の末、総額100億ドルでファイザーに買収された。一部報道によると、PHPとアーチは、メツセラの買収契約完了後2週間足らずで、新たな事業機会を見据えてセンチベラを立ち上げたという。

ハイスコは今年1月9日には、同日に完了した2億ドルのシリーズA資金調達ラウンドによって新設された米国のバイオテック企業エアネクサス(AirNexis)に、慢性閉塞性肺疾患(COPD)を適応症としてフェーズII段階にあるPDE3/4デュアル阻害剤HSK39004(現在の開発コードはAN01)の独占的権利を供与した。ハイスコは契約一時金として現金4,000万ドルと、エアネクサスの株式19.9%(6,800万ドル相当)をあわせて約1億800万ドルを受領するほか、マイルストーン金として最大9億5,500万ドルと、製品化後はロイヤルティを受け取る可能性がある。◆

韓国ハンミ、ジェネンテックとライセンス契約 新規肥満症治療薬候補の開発で

韓国のハンミ・ファーム(Hanmi Pharm、以下ハンミ)は8月24日、代謝性疾患を適応症として開発中のHM17321について、肥満症や2型糖尿病、心血管疾患などの肥満関連疾患を対象に、韓国を除く全世界での開発、製造、商業化の権利を供与する独占的ライセンス契約をジェネンテック(Genentech)と締結したと発表した。

HM17321は、インクレチンとは異なる作用機序を持つ独自開発のウロコルチン2(UCN2)アナログで、体重を減少させながら除脂肪体重を維持することを目指している。UCN2は慢性心不全患者で上昇が認められるシグナルタンパクとして知られ、筋萎縮の進行を抑える可能性も研究者らの間で数十年前から指摘されているという。既存のGLP-1ベースのインクレチン製剤は、有意な体重減少が確

認されている一方、除脂肪体重も減少することが報告されている。

HM17321の前臨床試験では、単剤療法およびGLP-1製剤との併用療法において、体重減少における量的・質的な改善が示されている。また、ペプチド医薬品であるHM17321は将来的に、固定用量配合剤やインクレチン系治療薬との併用療法への応用も期待されている。ハンミは2025年11月、HM17321の治験開始申請(IND)についてFDAから承認を得た。

合意の下、ハンミはフェーズI試験の完了までを担当し、ジェネンテックはフェーズII試験以降の開発に責任を持つ。ハンミはジェネンテックから契約一時金として1億9,000万ドルを受領する。開発、規制手続き、商業化のマイルストーン達成に応じた支払いを含めた契約総額は最大約23億ドルに達する可能性があるほか、

ロシュが後期開発段階に持つ肥満症治療薬候補

薬剤候補	適応症	開発状況
エニセパチド	肥満症/ 2型糖尿病	フェーズIII
エムグロバルト	肥満症	フェーズII
ペトレリンチド (petrelintide)	肥満症/ 2型糖尿病	フェーズII
RG6652	肥満症/ 2型糖尿病	フェーズII

出典：ロシュ資料を基にMSA作成

製品化後は売上に応じたロイヤルティを受け取る。

筋肉量を維持しながらの体重減少は、次世代の肥満治療薬が目指す重要な目標の一つである。ジェネンテック親会社のロシュは、この分野の有力候補としてエムグロバルト(emugrobart)をフェーズII試験下で開発している。肥満症治療分野でトップ3入りを目指すロシュは、2024年のカーモット・セラピューティクス(Carmot Therapeutics)買収により獲得したGLP-1/GIPデュアル受容体作動薬のエニセパチド(enicepatide)についても、2030年までの市場投入を目指している。◆

バイオハイブンとSKバイオフーマスーティカルズが提携 次世代選択的Kv7.2/7.3カリウムチャネル活性剤の開発で

バイオハイブン(Biohaven)と韓国のSKバイオフーマスーティカルズ(SK Biopharmaceuticals)は8月26日、戦略的なグローバルライセンスおよび提携契約を締結したと発表した。

この契約によりSKバイオフーマスーティカルズは、バイオハイブンの次世代選択的Kv7.2/7.3カリウムチャネル活性剤オパカリム(opakalim、開発コードBHV-7000)を含むKv7イオンチャネル・プラットフォームの世界的な独占権を取得する。

オパカリムは、多くの抗てんかん薬に伴う鎮静やめまいなどの中枢神経系の副作用を抑えながら、臨床的に意義のある有効性を発揮することを目的として設計されている。同剤は現在、焦点性てんかんを適応症としたフェーズII/III臨床試験RISE3が実施されており、トップライン結果の発表が2026年下半年に予定されている。

提携では、バイオハイブンの革新的なKv7プラットフォームと、SKバイオフーマスーティカルズが持つグローバルな開発・規制対応能力、そして世界のてんかん患者に医薬品を届けてきた実績ある商業化能力を組み合わせ、オパカリムの開発と米

国での承認取得で協力する。

SKバイオフーマスーティカルズは2019年11月、抗てんかん薬エクスコプリ(Xcopri、一般名cenobamate tablets)のFDA承認を取得している。エクスコプリは同社が創製したγアミノ酪酸(GABAA)イオンチャネルの陽性アロステリックモジュレーターで、電位依存性のナトリウム電流を阻害することにより、反復的なニューロン発射を低減する作用を持つと考えられている。

合意の下、バイオハイブンは契約完了時に3億5,000万ドル、2027年に現金5,000万ドルの合計4億ドルをSKバイオフーマスーティカルズから受領する。さらに、オパカリムの開発・規制上のマイルストーン達成に応じた最大1億5,000万ドルを受け取るほか、製品化後は世界売上に応じたロイヤルティを受領する可能性がある。

なお、今後のKv7プログラムにかかる費用は、契約条件に基づきSKバイオフーマスーティカルズが負担する。これには、オパカリムの開発元であるノップ・バイオサイエンス(Knopp Biosciences)に対する特定のマイルストーン金およびロイヤルティ支払い義務が含まれる。◆

マッケソンがプレジジョン・メディシンを買収 臨床研究および商業化支援サービスを強化

医薬品卸大手のマッケソン(McKesson)は8月25日、製薬業界向けに臨床研究および商業化支援サービスを提供するプレジジョン・メディシン・グループ(Precision Medicine Group、以下プレジジョン)を現金約22億5,000万ドルで買収することで合意したと発表した。

マッケソンは昨年9月に事業再編を発表し、利益率の高いバイオ医薬品やがん領域向けサービスなどを新たな注力分野とすることを明らかにしている。今回の取引完了後、同社はプレジジョンを腫瘍学およびマルチスペシャリティ部門の傘下に統合し、臨床研究および商業化支援サービ

スの強化を図る。

メリーランド州を拠点とするプレジジョンは、医薬品開発受託機関(CRO)であるとともに、バイオマーカー・インテリジェンス、ラボサービス、マーケットアクセスに関するコンサルティングなど、幅広い統合サービスとテクノロジーをバイオ製薬企業向けに提供している。分子の発見から市場投入までを支援しており、米国と欧州で5つのラボを運営するほか、臨床試験業務はがん領域に集中している。

プレジジョンは、2024年にFDAが承認した医薬品の56%で上市を支援した。◆

その他の主なニュース

■オシバックス、GCバイオと提携

仏オシバックス(Osivax)と韓国のGCバイオフーマ(GC Biopharma、以下GCバイオ)は8月27日、次世代の季節性インフルエンザワクチン候補の開発・商業化で提携すると発表した。

両社は、オシバックスのインフルエンザA型ワクチン候補OVX836と、GCバイオの不活化季節性インフルエンザワクチンGC FLUを組み合わせた単一注射剤を開発する。OVX836は高度に保存されたNP抗原へのT細胞応答を、GC FLUはインフルエンザの表面抗原であるヘマグルチニン(HA)に対する抗体応答を誘導し、流行株や新たに出現する株へのより強く広範な防御を目指す。

合意の下、オシバックスは日本と韓国を除く全世界でGC FLUとOVX836を組み合わせて使用する非独占的・サブライセンス可能なライセンスを取得する。同社は世界的な開発戦略を主導し、韓国外での開発・商業化を担当する。GCバイオは韓国での独占的権利を保持し、GC FLUを長期に供給、ロイヤルティを受領する。

■FDA、イマービイの適応拡大を承認

ヤンセン・バイオテック(Janssen Biotech)は8月24日、過去に副腎皮質ステロイドによる治療を受けた、または現在治療中の成人および12歳以上の小児患者における温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)の治療に適応に、イマービイ(Imaavy、一般名nipocalimab-aahu)がFDAから承認されたと発表した。wAIHAを適応症とする初の治療薬が誕生した。生命を脅かす希少な自己抗体疾患のwAIHAは、病原性を持つ免疫グロブリンG(IgG)自己抗体が赤血球を破壊することで、重度の貧血や著しい倦怠感を引き起こす。

免疫選択的胎児性Fc受容体(FcRn)阻害モノクローナル抗体薬イマービイは、2025年4月に全身型重症筋無力症(gMG)の治療薬としてFDAから承認を受けている。

今週のバイオテクニュース

ジェネンテック、中国デュアリティと提携
新規作用機序のペイロードを搭載したADC

ジェネンテック (Genentech) と抗体薬物複合体 (ADC) の開発に特化する中国のデュアリティバイオ (DualityBio、以下デュアリティ) は8月28日、新規作用機序を持つペイロードを創製するデュアリティ独自のDUPACプラットフォームを基盤とするADCの開発で、提携およびライセンス契約を締結したと発表した。

DUPACは、短い全身半減期、高い薬効、幅広い腫瘍タイプに対する活性、標的近傍のがん細胞にも治療効果が波及するバイスタンダー効

果といった一連の基準に基づき設計された独自の抗腫瘍メカニズムを有するペイロードと、全身循環中の安定性と腫瘍内での選択的放出能を備えるよう最適化されたリンカー技術で構成される。DUPAC基盤のADCは、既存のトポイソメラーゼ阻害剤ベースのADCへの反応性が低い腫瘍や、治療後に抵抗性が生じた腫瘍においても抗腫瘍活性を発揮することが期待されている。

合意の下、デュアリティはジェネンテックが指定するがん領域の標的に

対し、DUPACプラットフォーム基盤のADCを創製・開発する。発見および初期段階のグローバル臨床開発はデュアリティが担当し、フェーズIa試験終了後の開発および商業化はジェネンテックが単独で担う。ジェネンテックは、今回の提携で創製されるADCについて、全世界を対象とする独占的ライセンスを取得する。

デュアリティは契約一時金として4,500万ドルを受領するほか、開発、承認、商業化に関連するマイルストーン支払いとして総額10億ドル超と、製品化後は年間売上に応じたロイヤリティを受け取る可能性がある。◆

今週の研究関連ニュース

サプライズ請求禁止法の調停関連総コスト、4年で224億ドル
独立調停解決プロセスの利用は一部組織に集中

**NSAに由来する2022~2025年の
総コスト224億ドルの内訳**

サプライズ請求禁止法 (No Surprise Act、以下NSA) に基づく独立調停解決 (independent dispute resolution、IDR) プロセスに関連する総コストが、同法が発効した2022年1月1日から2025年末までの4年間で推計224億ドルに達したとの分析結果が、ヘルス・アフェアズ誌 (Health Affairs) に8月26日付で掲載された。

NSAは、医療サービスを受けた後に予期せぬ高額請求を受ける事態から患者を保護するため、ほぼすべての救急医療サービスと一部の非救急医療サービスを対象に「バランス・ビリング (balance billing)」を禁じている。バランス・ビリングとは、患者が保険プランのネットワーク外で治療を受けた場合に、実際の医療費と保険会社が償還する金額との差額をネットワーク外医療提供者が患者に直接請求することを指し、いわゆる「サプライズ請求」の原因となっている。

NSAの下、ネットワーク外医療提供者と保険会社の間で償還額について合意に至らなかった場合には、IDRプロセスを経て償還額 (以下、IDR償還額) が決定される。

ジョージタウン大学による連邦政

府のIDRデータ分析によると、保険会社が算出する「類似する地域で提供された類似サービス」に対する保険支払額の中央値である「適格支払額 (qualified payment amount、QPA)」を上回って保険会社が支払った額 (IDR償還額とQPAの差額) は4年間で156億ドルと、総コストの大部分を占めていた。その他の内訳は、紛争処理に伴う組織内の管理コストが同42億ドル、調停の当事者らがIDR事業者を支払う手数料などが同27億ドルだった。研究班によると、政府データは不完全であり、実際の総コストはさらに大きい可能性がある。

連邦政府は、紛争の大部分はIDRまで進まずに解決すると想定し、年間のIDR件数を約2万2,000件と見積もっていた。しかし実際には、2025年のIDR件数は前年比77%増の260万件と大幅な増加傾向が続いている。2026年上半年期には前年同期比50%増の約175万件が申請された。

2025年には、IDR全体の85%で医療提供者側の提示額が採用され、保険プラン支払総額は前年比264%

保険会社がネットワーク外医療提供者に支払った
IDR償還額とQPAの差額

156億ドル

紛争処理に伴う組織内の管理コスト

42億ドル

調停の当事者らがIDR事業者を支払う手数料

27億ドル

出典：ヘルス・アフェアズ誌の資料を基にMSA作成

増となった。IDRで決定された保険プラン支払額の中央値はQPAと比較して、救急医療では約3.2倍、神経科と形成外科では24~30倍に達した。

IDRに至る紛争の当事者は特定の医療提供者に集中しており、2025年に解決されたケースのうち、ラジオロジー・パートナーズ (Radiology Partners) の30%を筆頭に、3組織で件数全体の約4分の3を占めていた。

ジョージタウン大学の研究者は、NSAが消費者保護の目的は達成したものの、医療費抑制というもう1つの目的には逆行していると指摘している。

ラジオロジー・パートナーズは、医療提供者がIDRプロセスを求めるそもその原因は、保険会社が利益最大化のため、ネットワーク外医療提供者に不当に低い償還額を提示していることにあると主張している。◆