創薬・DDS

Weekly Intelligence Report

2026-09-12 ¦ 31件 ¦ 6カ国

troy-technical.jp

今週のキーワード

次世代創薬加速

PROTAC・RNA・AIが臨床で成果

31	6	1	3
件	カ国	件	件
総記事数	対象国数	PROTAC承認	RNA薬承認

今週の全31記事 — 5軸評価で読むべき記事を選ぶ

各列の見方 — 技術新規性：ブレークスルー度合い 実用化距離：製品として使える近さ 市場インパクト：業界全体への影響規模
データ信頼性：定量データ・査読の有無 日本関連度：日本の企業・サプライチェーンとの直接的関連性

#	記事タイトル	種別	技術新規性	実用化距離	市場インパクト	データ信頼性	日本関連度	一行サマリ
#01	AI薬レントセルチブ	AI創薬/臨床試験	●●●●	●●●○	●●●●	●●●○	●●○○	Insilico MedicineのAI設計薬レントセルチブが老化指標を改善し、特発性肺線維症でPhase III開始。AI創薬の臨床的実現性を裏付け。
#02	AI創薬大手提携強化	企業戦略/AI創薬	●●●○	●●●○	●●●●	●●●○	●●●○	IsomorphicとRecursion PharmaceuticalsがEli Lilly、Novartis、RocheとAI創薬で提携。AI創薬の実用化段階への移行を加速。
#03	希少肥満症AI創薬	AI創薬/資金調達	●●●●	●●●○	●●●○	●●○○	●●○○	Superluminal Medicinesが6,000万ドル調達し、希少肥満症向けGPCR標的薬の年内臨床試験開始へ。
#04	犬用mRNAがんワクチン	AI創薬/臨床試験	●●●●	●●●○	●●●○	●●○○	●●○○	GamgeeがChatGPTとAlphaFoldで犬用個別化mRNAがんワクチンを開発。AIが臨床試験設計・加速に貢献。
#05	Alexander病ASO承認	新製品/承認	●●●○	●●●●	●●●○	●●●●	●●●○	IonisのASO治療薬ZanvastrovがAlexander病初のFDA承認薬に。歩行速度の安定化を実証し、希少神経疾患に希望。
#06	高トリグリセリドsiRNA	臨床試験/siRNA	●●●○	●●●○	●●●●	●●●●	●●●○	ArrowheadのsiRNA治療薬Plozasiranが重症高トリグリセリド血症患者のトリグリセリドを80%削減。Phase IIIへ移行。
#07	B型肝炎ASO日本承認	新製品/承認	●●●○	●●●●	●●●●	●●●●	●●●●	ASO治療薬Bepirovirsenが慢性B型肝炎で機能的治癒率20%を達成。日本承認済み、FDA承認も間近。
#08	吸入siRNA肺炎症治療	臨床試験/DDS	●●●●	●●○○	●●●○	●●●○	●●●○	吸入siRNA療法ARO-RAGEが肺炎症治療で安全性・忍容性・肺標的エンゲージメントを確認。慢性肺疾患の新たな治療モダリティに期待。
#09	FSHD向けsiRNA複合体	臨床試験/DDS	●●●●	●●○○	●●●○	●●○○	●●●○	Soufflé TherapeuticsがFSHD向け筋肉標的抗体-siRNA複合体SFL-0821の第I/II相臨床試験を開始。
#10	HAE siRNA優良データ	臨床試験/siRNA	●●●○	●●●○	●●●○	●●●○	●●○○	Argo BiopharmaのsiRNA治療薬BW-20805が遺伝性血管性浮腫の第II相で優良データ。月間発作発生率を大幅減少。
#11	アンジェルマンASO	臨床試験/ASO	●●●○	●●●○	●●●○	●●●●	●●○○	UltragenyxのASO治療薬Apazunersenがアンジェルマン症候群の第3相試験で有望な結果。初の根本治療薬候補として期待。
#12	新規TROP2標的ADC	新技術/前臨床	●●●●	●●○○	●●●○	●●●○	●●●○	新規TROP2標的ADC「hIMB1636-LDP-AE」が乳がん・肺がんで強力な抗腫瘍効果と抗がん幹細胞活性を実証。
#13	ビスペシフィックADC	臨床試験/ADC	●●●●	●●●○	●●●●	●●●○	●●●○	ファーストインクラスのビスペシフィックADC「BL-B01D1」が再発小細胞肺がんの第Ib相で有望な抗腫瘍活性。

#	記事タイトル	種別	技術新規性	実用化距離	市場インパクト	データ信頼性	日本関連度	一行サマリ
#14	PALを用いた均一ADC	学術論文/新技術	●●●●○	●●○○○	●●●○○	●●●●○	●●●○○	ペプチドアスパラギニルリガーゼを用いたADCが均一性と抗腫瘍活性を向上。次世代ADC開発に新たな標準をもたらす可能性。
#15	HPVがんPETトレーサー	診断薬/承認	●●●○○	●●●○○	●●●○○	●●●○○	●●○○○	FDAがJBS-003をHPV陽性口腔咽頭がんの放射線治療減量をガイドする初のPETトレーサーとしてブレークスルー指定。
#16	初の乳がんPROTAC承認	新製品/承認	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●○○	初の乳がんPROTAC療法が承認。特定の変異を持つ進行性・転移性乳がんに精密医療の扉を開く画期的な進歩。
#17	AR PROTAC臨床試験	臨床試験/PROTAC	●●●●○	●●○○○	●●●○○	●●○○○	●●●○○	Gan & LeeのファーストインクラスAR PROTAC GLR2037が進行性前立腺がんの臨床試験を承認。中国発PROTACの進展。
#18	PV治療薬siRNA	臨床試験/siRNA	●●●○○	●●●○○	●●●○○	●●●○○	●●○○○	Silence TherapeuticsのsiRNA治療薬divesiranが真性赤血球増加症の第2相で奏効率88%を達成。Phase IIIへ移行。
#19	MASH治療薬siRNA	臨床試験/siRNA	●●●○○	●●○○○	●●●○○	●●○○○	●●○○○	Tangram TherapeuticsがMASH治療薬TGM-312（GalNAc-siRNA）の第1/2相試験で患者コホートへ移行。
#20	第一三共Datroway承認	新製品/承認	●●●○○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	第一三共/AstraZenecaのTROP2 ADC「Datroway」が転移性TNBC一次治療でFDA承認。日本企業に大きな影響。
#21	脳卒中予防siRNA	臨床試験/siRNA	●●●○○	●●○○○	●●●○○	●●○○○	●●○○○	Ribo Life ScienceのsiRNA治療薬Vortosiranが心房細動患者の脳卒中予防試験でEMA承認。FXI阻害で出血リスク低減。
#22	DM1治療薬失敗	臨床試験失敗	●●○○○	○○○○○	●●○○○	●●●●○	●●○○○	NovartisのDM1治療薬delpacibart etedesiran、第III相HARBOR試験で主要評価項目達成せず。RNA治療薬開発の難しさ浮き彫り。
#23	insitro CMO任命	企業戦略/AI創薬	●●●○○	●●●○○	●●●○○	●●○○○	●●●○○	insitroがHideo Makimura氏をCMOに任命し、AI創薬から臨床開発段階への移行を加速。MASH向けsiRNA開発経験者を招聘。
#24	RNA遺伝子編集提携	企業戦略/新技術	●●●●○	●●○○○	●●●○○	●●○○○	●●○○○	RecornaとStarna TherapeuticsがSTAR LNP技術を活用し、肺疾患向けRNA遺伝子編集薬開発で戦略的提携。
#25	製薬AIデータ問題	解説記事/市場課題	●○○○○	○○○○○	●●●○○	○○○○○	●●●○○	製薬AIの有効な展開を阻害する「臨床試験データ問題」が浮き彫りに。データインフラと管理戦略が不可欠。
#26	Moderna mRNA非ワクチン	新製品/技術動向	●●●○○	●●●●○	●●●●○	●●○○○	●●●○○	ModernaのRSVワクチンmRESVIA ® がFDA承認。mRNA治療薬の非ワクチン用途（心不全、遺伝性疾患、がん）も開発進行中。
#27	Catalent製造能力拡大	企業戦略/市場動向	●●○○○	●●●●○	●●●●○	●●●○○	●●●○○	Catalentが41億ドル調達し、バイオ医薬品・経口薬製造能力を拡大。GLP-1需要に対応し、AIツールも導入。
#28	Ionis Zanvastro承認	新製品/承認	●●●○○	●●●●○	●●●○○	●●●●○	●●●○○	IonisのASO療法Zanvastroがアレキサンダー病初の疾患修飾療法としてFDA承認。希少神経疾患治療に画期的な進歩。
#29	mRNA連続製造開発	新技術/製造技術	●●●●○	●●○○○	●●●●○	●●●○○	●●●○○	Waterfall ScientificがARPA-Hから5,450万ドル獲得し、mRNA連続製造プラットフォーム開発を主導。生産効率と迅速な供給体制を強化。
#30	ADC製造サプライ再編	市場危機/企業戦略	●○○○○	●●●●○	●●●●○	●●●○○	●●●●○	米BIOSECURE法がADC製造サプライチェーンを再編。Lonza、Samsung Biologicsが増強し、中国依存度低減へ。
#31	Eli Lilly経口GLP-1	臨床試験/新製品	●●●●○	●●●○○	●●●●○	●●●○○	●●●●○	Eli Lillyの経口GLP-1候補薬Orforglipronが第2相で注射剤に匹敵する減量効果。GLP-1市場にパラダイムシフトの可能性。

●●●●○ High ●●●○○ Med-High ●●○○○ Med ●○○○○ Low ¦ 背景黄色＝注目記事

今週、判断に影響しうる3つの問い

❶ PROTACの承認は、自社の創薬戦略を再考させるか？

初の乳がんPROTAC療法が承認され、特定の変異を持つ進行性乳がんに精密医療の扉が開かれました。既存薬に抵抗性を示す患者への新たな選択肢として、PROTAC技術はがん治療のパラダイムを変えつつあります。貴社のパイプラインにPROTAC戦略は組み込まれていますか？

❷ RNA治療薬の承認ラッシュは、自社の難治性疾患ポートフォリオに影響するか？

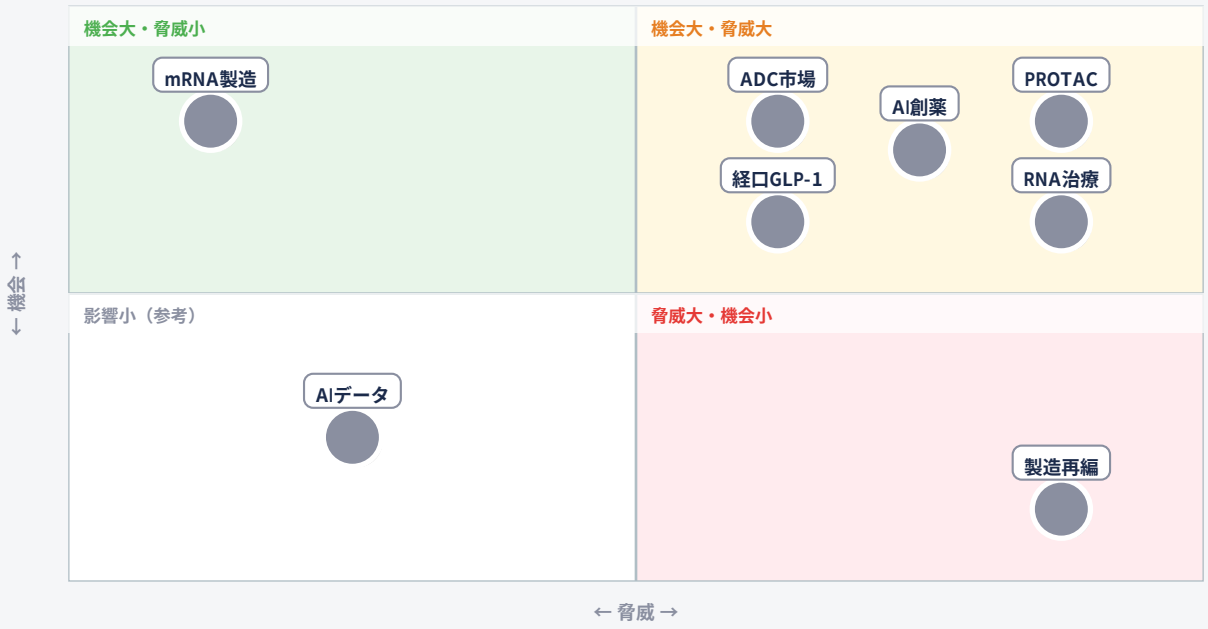
Alexander病初のASO治療薬承認、慢性B型肝炎ASOの日本承認、高トリグリセリド血症siRNAの強力なデータなど、RNA治療薬の臨床成果が相次いでいます。遺伝子レベルで疾患の根本原因にアプローチするこのモダリティは、貴社の難治性疾患ポートフォリオにおいて、どのような可能性を秘めているでしょうか？

❸ AI創薬への投資は、臨床開発への橋渡しとデータ基盤整備を伴っているか？

AI設計薬がPhase IIIに進み、大手製薬企業がAI創薬企業との提携を強化するなど、AI創薬は臨床段階へと移行しています。しかし、複雑な臨床試験データがAIモデル構築を阻害する「データ問題」も指摘されています。貴社のAI創薬への投資は、このギャップを埋めるためのデータ基盤整備と臨床開発戦略を伴っていますか？

日本企業にとっての「機会 vs 脅威」

日本企業にとっての「機会 vs 脅威」マトリクス



項目	象限	↑ 機会	↓ 脅威
PROTAC	注意	新規モダリティ市場参入	既存薬の陳腐化リスク
ADC市場	注意	日本企業が市場リード	競合激化と技術追随
RNA治療	注意	難治疾患治療機会	開発競争と失敗リスク
経口GLP-1	注意	巨大市場参入機会	既存注射剤の代替
AI創薬	注意	開発効率化・新薬創出	AI技術格差・データ不足
製造再編	脅威大	国内CDMO需要増	中国依存リスク・コスト増
mRNA製造	機会大	生産効率・迅速化	新技術への投資負担

● AIデータ	参考	データ基盤強化	AIモデル構築阻害

深掘り ① — 初のPROTAC療法承認：がん治療の新時代

#16 | 2026/09/07 | Nature Medicine Journal | 技術新規性●●●●● 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●●●
データ信頼性●●●●○ 日本関連度●●●○○

乳がん治療用のPROTAC（プロテオリシス標的キメラ）療法が医療用に承認され、特定の遺伝子変異を持つ進行性・転移性乳がん患者に新たな精密医療の扉を開きました。これは、疾患の原因となるタンパク質を分解するというPROTAC独自の作用機序が臨床的価値を持つことを証明する画期的な出来事です。

PROTACは、従来の阻害剤がタンパク質の機能をブロックするのに対し、タンパク質そのものを細胞内から除去するため、より強力で持続的な効果を発揮します。低用量で効果を発揮し、耐性メカニズムを克服する可能性を秘めており、がん治療における「アン・ドラッガブル」標的へのアプローチを可能にします。

▶ 技術者の視点

PROTACの承認は、がん治療の歴史における重要なマイルストーンです。提示されたデータは、従来の治療法に抵抗性を示す患者への明確なベネフィットを示しており、その有効性は非常に高いと評価できます。しかし、PROTACは分子設計が複雑であり、標的特異性やオフターゲット効果、デリバリーの最適化など、実用化に向けた未解決課題はまだ多く存在します。日本企業にとっては、この新規モダリティへの早期参入が【機会】となる一方、開発競争の激化と技術的遅れは【脅威】です。特に、独自のE3リガーゼリクルーターやリンカー技術の開発が重要です。R&D;部門は、自社パイプラインへのPROTAC戦略の組み込みと、外部パートナーシップの検討を急ぐべきです。

深掘り ② — 第一三共Datroway、TNBC一次治療でFDA承認

#20 | 2026/09/09 | Chemistry Today | 技術新規性●●●○○ 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●●●
データ信頼性●●●●○ 日本関連度●●●●●

第一三共とAstraZenecaが共同開発したTROP2指向性ADC「Datroway（datopotamab deruxtecan）」が、PD-1/PD-L1阻害剤の候補ではない切除不能または転移性のトリプルネガティブ乳がん（TNBC）患者の一次治療薬として米国FDAの承認を取得しました。

この承認は、第III相TROPION-Breast02試験の結果に基づくもので、Datrowayが標準治療と比較して無増悪生存期間と客観的奏効率の有意な改善を示したことが評価されました。TROP2 ADCがTNBC治療の新たな基盤となる可能性を示し、ADC技術の臨床的応用範囲の拡大を象徴します。

▶ 技術者の視点

第一三共のDatroway承認は、日本の製薬企業がグローバルなADC市場でリーダーシップを発揮していることを示す素晴らしい成果です。TNBCの一次治療というアンメットニーズの高い領域での承認は、その臨床的価値が非常に高いことを裏付けます。データ信頼性も高く、今後の市場展開に期待が持てます。しかし、TROP2 ADC市場は競合が激化しており、後続のADC開発企業にとっては、より優れた治療指数や独自の作用機序を持つ薬剤の開発が必須となります。日本企業にとっては、この成功を足がかりに次世代ADC技術への投資を加速する【機会】がある一方で、国内外の競合他社との差別化ができない場合は【脅威】となり得ます。ADC製造技術を持つ材料・素材メーカーやCDMOは、需要増に対応できるよう準備が必要です。

深掘り ③ — AI創薬の臨床実現：老化指標改善薬がPhase IIIへ

#01 ┆ 2026/09/08 ┆ Inc.com ┆ 技術新規性●●●●○ 実用化距離●●●○○ 市場インパクト●●●●○ データ信頼性●●●○○ 日本関連度●●○○○

Insilico MedicineのAI生成薬レントセルチブが、12週間の臨床試験で生物学的年齢の6つのタンパク質ベースの指標を平均10.3%低下させる初期兆候を示しました。これはAI設計薬がヒトの老化プロセスに影響を与える可能性を初めて示唆する画期的な発見です。

レントセルチブは特発性肺線維症（IPF）に対する第III相臨床試験も開始しており、AIが生物学的標的同定から分子生成、バイオマーカー解析まで創薬プロセス全体に貢献したことを示します。AI創薬が机上の理論だけでなく、臨床的意義のある成果を生み出す段階に入ったことを明確に示しています。

▶ 技術者の視点

AI創薬が老化指標の改善という、これまで困難だった領域で初期兆候を示し、さらにPhase IIIに進んだことは非常に注目に値します。AIが創薬の全プロセスに貢献したという点は、AI創薬の可能性を大きく広げるものです。ただし、老化指標の改善は初期兆候であり、大規模臨床試験での再現性と長期的な臨床的意義の確認が不可欠です。また、IPFに対する効果と老化指標改善のメカニズム的関連性も深掘りが必要です。日本企業にとっては、AI創薬への投資を加速し、独自のAIプラットフォームとデータ基盤を構築する【機会】です。しかし、AI技術の導入が遅れれば、開発効率とスピードで国際競争力を失う【脅威】となります。R&D;部門は、AI創薬の最新動向を注視し、自社でのAI活用戦略を具体化すべきです。

その他の注目記事

Bepirovirsenが慢性B型肝炎の機能的治癒率20%を達成、日本承認・中国申請、FDA PDUFA 2026年10月 (OligoTherapeutics.org)
技術新規性●●●○○ 実用化距離●●●●○ 市場インパクト●●●●●

慢性B型肝炎の機能的治癒率20%は画期的。日本承認済みで、日本の患者に直接影響する重要な進歩。ASO技術の適用拡大を示す。

Eli Lillyの経口GLP-1候補薬Orforglipron、第2相試験で注射剤に匹敵する減量効果と安全性を示す (Endocrinology Today)
技術新規性●●●●○ 実用化距離●●●○○ 市場インパクト●●●●●

非ペプチド性経口GLP-1が注射剤に匹敵する効果を示し、GLP-1市場にパラダイムシフトをもたらす可能性。患者利便性向上に期待。

米通商政策とBIOSECURE法がADC製造を再編：ロンザ・サムスンバイオロジクスが増強 (Bioprocess Online)
技術新規性●○○○○ 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●●●

米国の政策がADCサプライチェーンを再編し、中国依存度低減を促進。日本のCDMOや製薬企業は、この地政学的リスクと機会を評価すべき。

IonisのASO治療薬Zanvastro、Alexander病初のFDA承認薬として登場、歩行速度の有意な安定化を実証 (Ionis Pharmaceuticals)
技術新規性●●●○○ 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●○○

希少神経変性疾患Alexander病初の疾患修飾療法としてASOがFDA承認。ASO技術の適用拡大と希少疾患治療への貢献を示す。

BL-B01D1：ファーストインクラスのビスペシフィックADCが再発小細胞肺がんの第Ib相で抗腫瘍活性を示す (ASCO Post)
技術新規性●●●●○ 実用化距離●●●○○ 市場インパクト●●●●○

ファーストインクラスのビスペシフィックADCが難治性SCLCで有望な活性。単一標的ADCの限界を克服する次世代技術として注目。

今週のアクション提案

記事評価マトリクスと機会/脅威分析を踏まえたアクション提案です。

即時（今週中）

- 【R&D;】PROTAC、RNA治療薬、次世代ADCの最新動向を社内共有し、自社パイプラインへの影響と競合状況を議論する。
- 【経営企画】米BIOSECURE法案の影響を評価し、医薬品サプライチェーンにおける中国依存度を緊急確認、代替戦略の検討を開始する。

短期（1ヶ月）

- 【R&D;】経口GLP-1の非ペプチド性低分子技術動向を調査し、自社DDS技術との連携可能性や、肥満・糖尿病領域での新規参入・競合戦略を検討する。
- 【IT/R&D;】製薬AIにおけるデータ問題（#25）を認識し、自社の臨床試験データ管理・統合・標準化の現状を評価。AIモデル構築を阻害するボトルネックを特定する。
- 【調達/製造】ADC製造CDMOの地理的リスク分散計画を策定開始。特に、中国以外の製造拠点を持つCDMOとの連携を強化する。

中長期（四半期〜）

- 【R&D;】PROTAC/RNA治療薬の新規標的探索プロジェクトを立ち上げ、独自のE3リガーゼリクルーターやデリバリー技術の開発、外部パートナーシップ（大学、ベンチャー）を検討する。
- 【経営企画】mRNA連続製造技術（#29）への投資機会を評価し、将来的なワクチン・治療薬製造戦略に組み込む可能性を検討。生産効率と迅速な供給体制の構築を目指す。
- 【材料メーカー】次世代ADC向けリンカー・ペイロード材料、LNP構成脂質など、新規モダリティに特化した機能性材料のニーズを調査し、開発ロードマップを更新する。

troy-technical.jp 独自キュレーション。記事著作権は各原著作者に帰属。 ¦ Gemini API + Claude ¦ 2026-09-12

創薬・DDS 採用記事全文集

出力日: 2026-09-12

採用記事数: 31 件

収録記事一覧

#01 Insilico MedicineのAI生成薬レントセルチブ、老化指標を改善し特発性肺線維症Phase IIIを開始

#02 Isomorphic LabsとRecursion Pharmaceuticals、大手製薬企業とAI創薬で戦略的提携を強化

#03 Superluminal Medicines、希少肥満症AI創薬で6,000万ドル調達、年内臨床試験開始へ

#04 GamgeeがChatGPTとAlphaFoldで犬用mRNAがんワクチンを開発、AIが臨床試験を加速

#05 IonisのASO治療薬Zanvastro、Alexander病初のFDA承認薬として登場、歩行速度の有意な安定化を実証

#06 ArrowheadのsiRNA治療薬Plozasiran、重症高トリグリセリド血症患者のトリグリセリドを80%削減

#07 Bepirovirsenが慢性B型肝炎の機能的治癒率20%を達成、日本承認・中国申請、FDA PDUFA 2026年10月

#08 吸入siRNA療法ARO-RAGE、肺炎症治療で安全性・忍容性・肺標的エンゲージメントを確認

#09 Soufflé Therapeutics、FSHD向け筋肉標的siRNA複合体SFL-0821の第I/II相臨床試験を開始

#10 Argo Biopharma、遺伝性血管性浮腫siRNA治療薬BW-20805の第II相優良データを発表

#11 Ultragenyx、アンジェルマン症候群ASO治療薬Apazunersenの第3相ASPIRE試験で有望な結果発表

#12 hIMB1636-LDP-AE：新規TROP2標的ADCが乳がん・肺がんで強力な抗腫瘍効果と抗がん幹細胞活性を実証

#13 BL-B01D1：ファーストインクラスのビスペシフィックADCが再発小細胞肺がんの第Ib相で抗腫瘍活性を示す

#14 ペプチドアスパラギニルリガーゼを用いたADC、均一性と抗腫瘍活性を向上させ製薬応用に期待

#15 FDA、JBS-003（18F-FMISO）をHPV陽性口腔咽頭がんの放射線治療減量をガイドする初のPETトレーサーとしてブレークスルー指定

#16 初の乳がんPROTAC療法が承認、特定の変異を持つ進行性・転移性乳がんに精密医療の扉を開く

#17 Gan & Leeのファーストインクラス AR PROTAC GLR2037、NMPAから進行性前立腺がんの臨床試験を承認

#18 Silence TherapeuticsのPV治療薬divesiran、第2相で奏効率88%を達成しPhase 3へ移行

#19 Tangram Therapeutics、MASH治療薬TGM-312の第1/2相RESTORE-MASH試験で患者コホートへの移行を発表

#20 第一三共/AstraZenecaのDatroway、転移性TNBC一次治療でFDA承認・EMA肯定的意見を取得

#21 Ribo Life ScienceのsiRNA治療薬Vortosiran、心房細動患者の脳卒中予防試験でEMA承認

#22 NovartisのDM1治療薬delpacibart etedesiran、第III相HARBOR試験で主要評価項目達成せず

#23 insitro、Hideo Makimura氏を最高医学責任者に任命しAI創薬から臨床開発段階への移行を加速

#24 RecornaとStarna Therapeutics、STAR LNP技術を活用し肺疾患向けRNA遺伝子編集薬開発で戦略的提携

#25 製薬AIにおけるデータ問題：複雑な臨床試験データがAIモデル構築を阻害

#26 ModernaのRSVワクチンmRESVIA®がFDA承認、mRNA治療薬の非ワクチン用途も開発進行中

#27 Catalent、41億ドル資金調達でバイオ医薬品・経口薬製造能力を拡大、GLP-1需要に対応

#28 Ionis社、アレキサンダー病初の疾患修飾ASO療法「Zanvastro」がFDA承認を獲得

#29 Waterfall Scientific、ARPA-Hから5450万ドル獲得：mRNA連続製造プラットフォーム開発を主導

#30 米通商政策とBIOSECURE法がADC製造を再編：ロンザ・サムスンバイオロジクスが増強

#31 Eli Lillyの経口GLP-1候補薬Orforglipron、第2相試験で注射剤に匹敵する減量効果と安全性を示す

#01 Insilico MedicineのAI生成薬レントセルチブ、老化指標を改善し特発性肺線維症Phase IIIを開始

公開日 2026年09月08日　Inc.com　アメリカ



概要

Insilico Medicine社がAIを用いて設計した薬剤レントセルチブ（rentosertib）が、12週間の臨床試験で生物学的年齢の6つのタンパク質ベースの指標を低下させる初期兆候を示しました。これは、AI設計薬がヒト臨床試験段階で有望な効果を示し、生物学的標的同定から分子生成、バイオマーカー解析に至るまでAIが創薬プロセス全体に貢献したことを示します。さらに、レントセルチブは特発性肺線維症（IPF）に対する第III相臨床試験も開始しており、AI創薬の臨床的実現可能性を強力に裏付けています。この成果は、AIが複雑な生物学的課題に対処し、老化関連疾患や慢性疾患に新たな治療選択肢をもたらす可能性を示唆しています。

詳細

主要成果

Insilico Medicine社がAIプラットフォーム「Chemistry42」を活用して開発した低分子薬剤レントセルチブ（rentosertib）が、12週間の臨床試験において生物学的年齢の6つのタンパク質ベースのバイオマーカーを平均10.3%低下させる初期兆候を示しました。これは、AIが設計した薬剤がヒトの老化プロセスに影響を与える可能性を初めて示唆する画期的な発見です。また、レントセルチブは特発性肺線維症（IPF）の治療薬としても開発が進められており、最近では第III相臨床試験「GENESIS-IPF-3」の最初の患者への投与を開始しました。これらの進展は、AI創薬が机上の理論だけでなく、実際に臨床的意義のある成果を生み出す段階に入ったことを明確に示しています。

技術・臨床詳細

レントセルチブは、新規のAI設計されたキナーゼ阻害剤であり、線維化経路と老化に関連する複数の標的に作用すると考えられています。老化指標の改善は、血漿中の複数のタンパク質マーカー（例: GDF15、IL-6など）のレベルを測定することで評価されました。IPFに対する作用機序は、線維化プロセスに関与する特定の経路を阻害することにあります。第III相試験であるGENESIS-IPF-3は、IPF患者におけるレントセルチブの有効性と安全性を評価することを目的とした多施設共同、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照試験です。Insilico MedicineのAIプラットフォームは、生物学的標的の特定、新規分子構造の生成、そして疾患バイオマーカーの特定という創薬の主要なステップ全てにAIを活用しており、これにより従来の創薬プロセスと比較して開発期間とコストの大幅な削減を目指しています。

背景・業界文脈

老化は、がん、心血管疾患、神経変性疾患など、多くの慢性疾患の主要なリスク因子です。老化プロセスそのものを遅らせる、あるいは逆転させる介入は、現代医療における最大の未開拓分野の一つとされています。AIを活用した創薬は、従来、数年から数十年の時間を要し、莫大なコストがかかる創薬プロセスを劇的に変革する可能性を秘めています。Insilico Medicineは、AIが完全に設計した薬剤を臨床段階に進めた数少ない企業の一つであり、その成果は業界全体の注目を集めています。特に、レントセルチブが老化と疾患の双方に有望な影響を示すことで、AI創薬の汎用性と深い生物学的洞察能力が実証されています。

今後の展望

レントセルチブのIPF第III相試験の成功は、同社の企業価値を大きく高めるだけでなく、AI創薬モデル全体の信頼性を確固たるものにするでしょう。もし老化指標の改善が大規模な臨床試験で確認されれば、老化そのものを治療対象とする「ジェロサイエンス」分野に革命をもたらす可能性があります。将来的には、AIがさらに多くの「アン・ドラッガブル（創薬困難な）」標的を特定し、より効率的かつパーソナライズされた治療薬の開発を加速させることが期待されます。投資家や研究者にとって、Insilico Medicineの動向は、次世代の医薬品開発の方向性を示す重要な指標となるでしょう。

元記事: https://www.inc.com/lucia-auerbach/can-drug-treat-lung-disease-slow-biological-aging-12-week-trial-found-early-signs/91402885

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#02 Isomorphic LabsとRecursion Pharmaceuticals、大手製薬企業とAI創薬で戦略的提携を強化

公開日 2026年09月09日　flcube.com　国際



概要

Alphabet傘下のIsomorphic Labsは、Eli LillyおよびNovartisと大規模なAI創薬パートナーシップを締結し、未公開の複数の標的に対する新規小分子治療薬の発見を目指します。同時に、Recursion PharmaceuticalsもAI、自動化、大規模な生物・化学データセットを統合し、RocheおよびGenentechと神経変性疾患の治療標的特定のためのデータ構築で協力しています。これらの提携は、AIが従来の創薬のボトルネックを打破し、複雑な疾患に対する画期的な治療法を加速する重要な役割を果たすことを明確に示しています。大手製薬企業がAIに大規模投資を行うことで、AI創薬の産業全体への浸透が加速すると期待されます。

詳細

主要成果

AI創薬分野における二つの主要プレイヤー、Alphabet傘下のIsomorphic LabsとRecursion Pharmaceuticalsが、大手製薬企業との戦略的提携を強化しました。Isomorphic LabsはEli LillyおよびNovartisと、未公開の複数の創薬標的に対する革新的な小分子治療薬の発見を目的とした複数年にわたる契約を締結しました。一方、Recursion Pharmaceuticalsは、AIと自動化、そして大規模な生物学的・化学的データセットを組み合わせて創薬を加速しており、神経変性疾患の治療標的特定のため、RocheおよびGenentechと協力し、ニューロンおよび脳免疫細胞の大規模なデータセットを構築しています。これらの提携は、AIが創薬プロセスを劇的に加速し、特に難治性疾患領域における新たな治療選択肢の発見に不可欠であることを示しています。

技術・臨床詳細

Isomorphic Labsは、Google DeepMindの基盤技術を活用し、タンパク質の構造予測や分子設計に特化したAIモデルを開発しています。Eli LillyおよびNovartisとの提携では、これらのAIモデルを用いて、構造が不明な標的を含む複数の新規標的に対する低分子薬の探索が行われます。各提携の初期契約金は数千万ドル規模に上り、将来のマイルストーン達成に応じて数十億ドルに達する可能性があります。Recursion Pharmaceuticalsは、独自のロボット駆動型ウェットラボと広範な生物・化学データライブラリをAIアルゴリズムと統合しています。Roche/Genentechとの協業では、数百万に及ぶ化合物と数兆の生物学的データを分析し、神経変性疾患における複雑な疾患メカニズムを解明し、新たな治療標的を特定することを目指しています。AIは、従来の手法では発見困難だった潜在的な候補物質や作用機序を効率的に特定し、ヒットからリード、そして前臨床候補の生成までのプロセスを加速させます。

背景・業界文脈

創薬は、成功率の低さ、膨大な時間とコストが課題とされてきました。AIはこれらの課題を克服するための強力なツールとして期待されており、特に、初期段階の標的同定からリード最適化、前臨床開発までの期間を短縮する可能性を秘めています。大手製薬企業は、自社だけでは到達できない創薬能力を獲得するため、AI専門企業との提携を積極的に進めています。Isomorphic LabsとRecursion Pharmaceuticalsはいずれも、高度なAI技術と独自のデータセットを持つことで、業界の注目を集めています。今回の提携は、AI創薬が初期の「バズワード」段階から、具体的なパイプラインを構築し、臨床的価値を生み出す「実用化」段階へと移行していることを示しています。

今後の展望

これらのAI創薬パートナーシップの成功は、製薬業界全体のデジタル変革をさらに加速させるでしょう。AIによって発見された薬剤が臨床試験で有効性を示すことで、より多くの製薬企業がAI技術への投資を強化し、創薬エコシステム全体が変革される可能性があります。特に神経変性疾患のような、これまでの創薬アプローチでは大きな進展が見られなかった領域において、AIが新たな突破口を開くことが期待されています。投資家は、これらの提携から生まれるパイプラインの進捗を注視し、AIがもたらす長期的な価値創造に注目するでしょう。

元記事: https://flcube.com/alphabets-isomorphic-labs-inks-pharma-partnerships-with-eli-lilly-and-novartis/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#03 Superluminal Medicines、希少肥満症AI創薬で6,000万ドル調達、年内臨床試験開始へ

公開日 2026年09月06日　BioPharma Dive　アメリカ



概要

AI創薬スタートアップのSuperluminal Medicinesが、希少肥満症治療薬の臨床試験進展に向けて6,000万ドルの資金を調達しました。同社の新規薬剤はGタンパク質共役型受容体（GPCR）MC4Rを標的としており、年内にはヒトでの臨床試験を開始する予定です。この資金調達は、AIを活用した創薬パイプラインの加速、特に満たされていない医療ニーズが高い希少疾患領域における画期的な治療法の開発を可能にします。同社のプラットフォームは、これまで創薬困難とされてきたGPCR標的の薬剤発見に新たな道を開くものとして注目されています。

詳細

主要成果

AI創薬を専門とするSuperluminal Medicines社が、希少肥満症治療薬の臨床開発を加速させるため、6,000万ドルの資金調達を完了したと発表しました。この新たな資金は、同社の主要候補薬であるGタンパク質共役型受容体（GPCR）MC4Rを標的とする薬剤の臨床試験開始に向けた準備と、AI駆動型創薬プラットフォームのさらなる拡張に充てられます。年内にはヒトでの最初の臨床試験（Phase I）を開始する予定であり、AI創薬が希少疾患領域で具体的な成果を生み出す可能性を示しています。

技術・臨床詳細

Superluminal MedicinesのAIプラットフォームは、特にGPCR（G-protein coupled receptors）のような、その複雑な構造と多様な機能から従来の創薬手法では「創薬困難（undruggable）」とされてきた標的に焦点を当てています。同社の技術は、膨大な化学空間からMC4Rに特異的かつ効果的に作用する新規分子をAIが設計し、合成・評価するプロセスを最適化します。MC4Rは食欲、エネルギー代謝、体重調節において重要な役割を果たすGPCRであり、その機能不全は希少肥満症の原因となります。同社の薬剤は、MC4Rの活性を精密に調節することで、既存薬では対応が難しい希少肥満症患者に新たな治療選択肢を提供することを目指しています。臨床試験の進捗は、AIがGPCRのような高難度標的に対する創薬を加速できるかどうかの重要な試金石となります。

背景・業界文脈

希少肥満症は、特定の遺伝子変異によって引き起こされる重度の肥満症であり、既存の治療法では効果が限定的であるか、あるいは利用できない患者が多く存在します。この領域は、患者数が少ないため製薬企業の研究開発投資が遅れがちでしたが、AI技術の進化により、このようなアンメットニーズの高い疾患に対する創薬の可能性が広がっています。Superluminal Medicinesの資金調達は、AI創薬がベンチャーキャピタル市場で引き続き高い評価を受けていることを示すものであり、特にライフサイエンスとテクノロジーの融合分野への投資が活発であることを物語っています。GPCRは多様な生理機能に関与するため、この分野でのAI創薬の成功は、肥満症以外の広範な疾患領域への応用も期待されます。

今後の展望

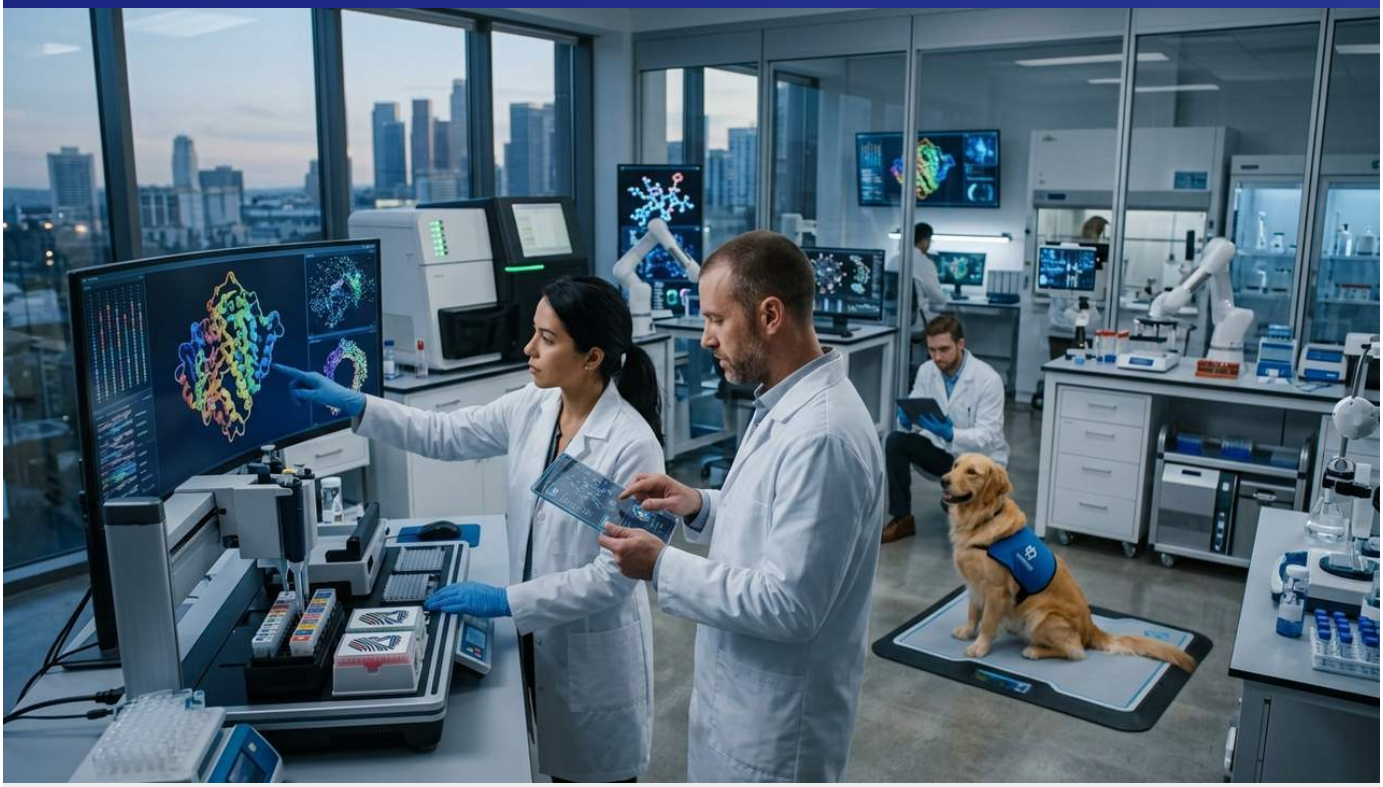
今回の資金調達と年内の臨床試験開始は、Superluminal Medicinesにとって重要なマイルストーンとなります。MC4Rを標的とする薬剤がヒトで安全性と初期有効性を示せば、希少肥満症の治療風景を大きく変える可能性があります。また、これはAI創薬が、複雑な生物学的経路を解読し、特定の疾患に適応した治療薬を効率的に設計する能力を持つことをさらに証明することになるでしょう。投資家や研究者は、同社の臨床試験結果と、AIプラットフォームが今後どのような新規パイプラインを生み出すかに注目しています。希少疾患におけるAI創薬の成功事例は、他の難病に対する創薬モデルのロールモデルとなり得ます。

元記事: https://www.biopharmadive.com/news/superluminal-medicines-obesity-ai-drug-discovery-series-b/829552/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#04 GamgeeがChatGPTとAlphaFoldで犬用mRNAがんワクチンを開発、AIが臨床試験を加速

公開日 2026年09月07日　Gies Business (Facebook)　アメリカ



概要

AIは臨床試験のあらゆる側面を加速する可能性を秘めており、Gamgee社はChatGPTとAlphaFoldを用いて犬用の個別化mRNAがんワクチンを設計し、現在臨床試験が進行中です。この進展は、AIが患者募集の最適化、データ駆動型意思決定の強化、予測モデリングによる試験成功率の向上に貢献できることを示しています。特に、ChatGPTによる文書分析とAlphaFoldによるタンパク質構造予測の組み合わせは、バイオテクノロジーにおける設計プロセスを加速し、個別化医療の実現に大きく寄与します。このアプローチは、新薬開発のコストと時間を削減し、未曾有の効率で治療法を患者に届ける可能性を秘めています。

詳細

主要成果

AIは医薬品開発の全段階、特に臨床試験を劇的に加速する可能性を示しています。その具体的な進展として、Gamgee社は先進的なAIモデルであるChatGPTとAlphaFoldを組み合わせて、犬用の個別化mRNAがんワクチンを設計し、現在、その臨床試験が進行中であることを発表しました。この事例は、AIが創薬だけでなく、臨床試験の設計、患者選択、結果予測といったプロセス全体を最適化し、医薬品をより迅速かつ効率的に市場に投入する道を開くことを実証しています。

技術・臨床詳細

Gamgee社の犬用mRNAがんワクチン開発では、ChatGPTが大量の科学文献や臨床データを分析し、がんの個別化に必要な情報抽出や仮説生成を支援しました。一方、AlphaFoldは、特定の犬種のがん細胞に存在する特異的なタンパク質の構造を高精度で予測し、それに基づいて最適なmRNA配列を設計しました。この個別化されたワクチンは、犬のがん患者に特有の抗原を標的とすることで、強力な免疫応答を誘導し、腫瘍の成長を抑制することを目指します。臨床試験では、ワクチンの安全性、免疫原性、および抗腫瘍効果が評価されます。AIを活用することで、従来の動物用医薬品開発よりもはるかに短い期間で候補ワクチンの設計から臨床試験準備までを進めることができました。

背景・業界文脈

AIの臨床試験への応用は、患者募集の効率化、リアルタイムでのデータモニタリング、およびより正確な試験成功率予測といった多岐にわたります。従来の臨床試験は、膨大な時間と費用がかかり、高い失敗率が問題視されてきました。AIは、複雑なデータセットを解析し、隠れたパターンや相関関係を特定することで、これらの課題を解決する可能性を提供します。ChatGPTのような大規模言語モデル（LLM）は、情報探索や報告書の生成において人間の能力を拡張し、AlphaFoldのような構造予測AIは、標的タンパク質の理解を深め、より効果的な薬剤設計を可能にします。Gamgeeの事例は、ヒトの医療分野へのAI応用を加速するための重要な概念実証となり、個別化医療の新たな地平を拓くものです。

今後の展望

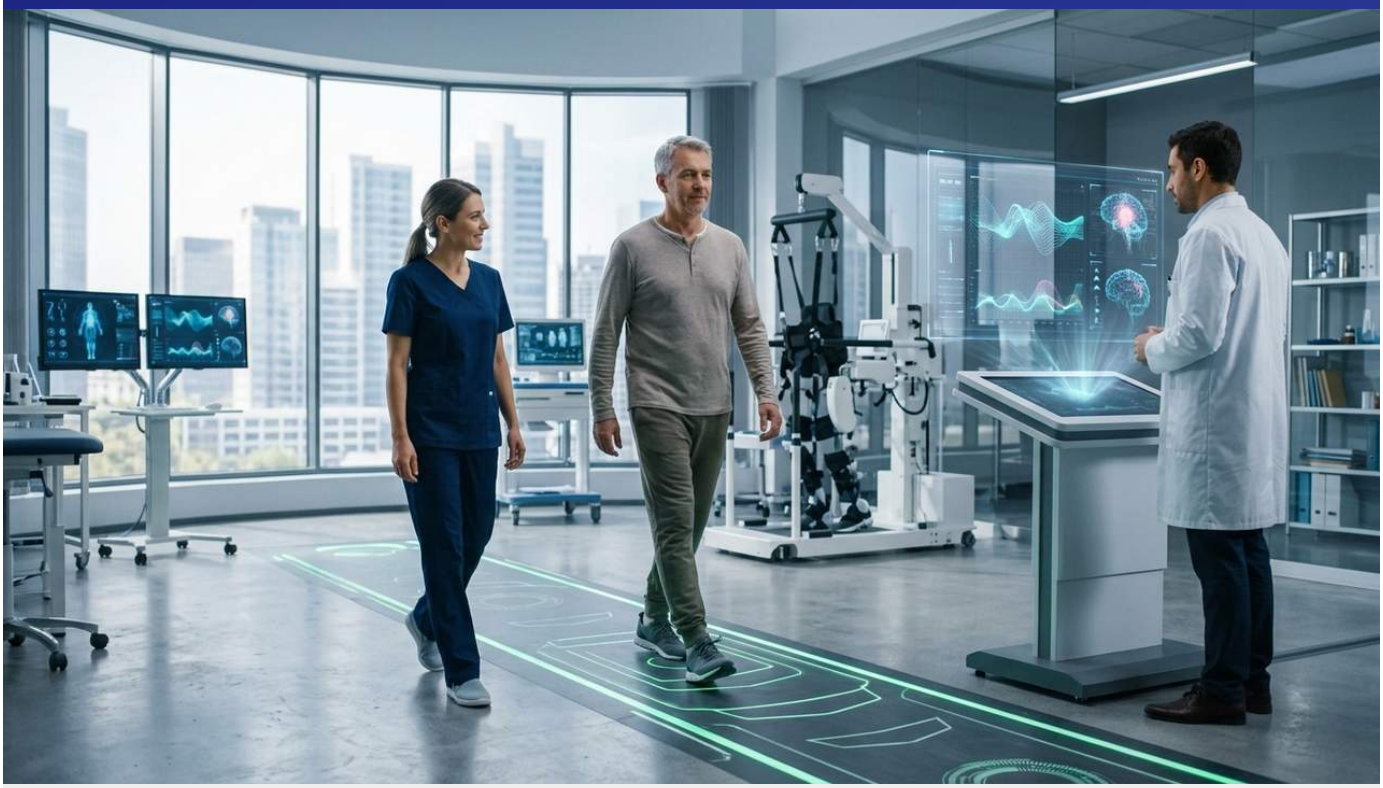
犬用がんワクチンにおけるAIの成功は、ヒトのがん治療やその他の疾患に対する個別化mRNAワクチン開発への道を大きく開くものです。AIが臨床試験プロセスのボトルネックを解消することで、より多くの有望な治療法が迅速に患者に届くようになります。将来的には、AIがさらに高度な予測モデリングやバーチャル臨床試験を可能にし、新薬開発の効率と成功率をさらに向上させることが期待されます。投資家や研究者にとって、AIとバイオテクノロジーの融合は、ヘルスケア分野における破壊的イノベーションの最前線であり、今後の動向が注視されるでしょう。

元記事: https://www.facebook.com/giesbusiness/posts/new-research-from-gies-business-suggests-ai-could-help-make-clinical-drug-trials/1591680719421345/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#05 IonisのASO治療薬Zanvastro、Alexander病初のFDA承認薬として登場、歩行速度の有意な安定化を実証

公開日 2026年09月04日　Ionis Pharmaceuticals　アメリカ



概要

Ionis Pharmaceuticalsのアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）治療薬Zanvastro（zilganersen）が、稀な進行性神経変性疾患であるAlexander病（AxD）の初の治療薬としてFDAに承認されました。Zanvastroは、Alexander病の根本原因であるGFAP遺伝子変異に直接対処する、唯一の疾患修飾療法です。第I-III相臨床試験において、患者の歩行速度の有意な安定化が示され、進行性疾患に対する新たな希望をもたらします。この承認は、Ionisがアンメットメディカルニーズの高い希少神経疾患領域で、ASO技術を適用し成功を収めた重要なマイルストーンとなります。

詳細

主要成果

Ionis Pharmaceuticals社が開発したアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）治療薬Zanvastro（一般名：zilganersen）が、米国食品医薬品局（FDA）によってAlexander病（AxD）の初の疾患修飾療法として承認されました。Zanvastroは、AxDの原因となるグリア線維性酸性タンパク質（GFAP）遺伝子の変異に直接作用する初の治療法であり、第I-III相臨床試験において患者の歩行速度を有意に安定化させる効果を示しました。この承認は、これまで治療法がなかったAlexander病患者にとって画期的な進歩であり、ASO技術が稀な神経疾患に対して高い治療可能性を持つことを改めて証明するものです。

技術・臨床詳細

Alexander病は、GFAP遺伝子の変異によって異常なGFAPタンパク質が蓄積し、中枢神経系に重篤な損傷を引き起こす、進行性の神経変性疾患です。Zanvastroは、この変異GFAP mRNAに特異的に結合し、その翻訳を阻害することで、異常タンパク質の産生を減少させます。臨床試験では、主要評価項目である運動機能や疾患の進行に関して、プラセボ群と比較してZanvastro群で有意な改善または安定化が見られました。特に、歩行速度の安定化は、Alexander病患者の日常生活の質を維持する上で極めて重要な成果です。安全性プロファイルも良好であり、忍容性が高いことが確認されています。Zanvastroは、アンチセンス技術を応用した、遺伝子レベルでの疾患根本原因治療のアプローチを代表する薬剤です。

背景・業界文脈

Alexander病は、発症が稀でありながら、小児期に発症すると進行が早く致死的な結果をもたらすことが多い重篤な疾患です。これまで、対症療法しか存在せず、疾患の進行を遅らせる根本的な治療法は存在しませんでした。今回のZanvastroのFDA承認は、そのようなアンメットメディカルニーズに初めて応えるものであり、希少疾患、特に神経変性疾患におけるASO技術の重要性を浮き彫りにします。Ionis Pharmaceuticalsは、ASO技術のパイオニアとして、脊髄性筋萎縮症（SMA）のNusinersen（Spinraza）など、複数のASO薬剤を成功させてきました。Zanvastroの承認は、同社の希少疾患パイプラインをさらに強化し、ASOプラットフォームの幅広い適用可能性を示すものです。

今後の展望

Zanvastroの市場導入は、Alexander病患者とその家族に新たな希望をもたらし、疾患の自然経過を変化させる可能性を秘めています。また、この成功は、他の稀な遺伝性神経疾患に対してもASOアプローチをさらに探索する強力なインセンティブとなるでしょう。Ionisは、今後もASO技術を活用して、神経疾患、心血管代謝疾患、希少疾患などの広範な領域でパイプラインを拡大していくことが予想されます。投資家や研究者にとっては、Zanvastroの承認はASO技術の商業的および臨床的価値を再確認するものであり、このモダリティの将来性に対する期待を一層高めるものとなります。

元記事: https://ir.ionis.com/news-releases/news-release-details/zanvastrotm-zilganersen-approved-fda-first-and-only-disease

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#06 ArrowheadのsiRNA治療薬Plozasiran、重症高トリグリセリド血症患者のトリグリセリドを80%削減

公開日 2026年09月07日　TCTMD　アメリカ



概要

Arrowhead PharmaceuticalsのsiRNA治療薬plozasiran（Redemplo）が、SHASTA-3およびSHASTA-4試験において、重症高トリグリセリド血症患者のトリグリセリドレベルを約80%減少させるという強力な有効性を示しました。Plozasiranはアポリポタンパク質C-III（APOC3）を標的としており、既存薬では効果が不十分な患者にとって画期的な治療選択肢となる可能性があります。このデータは、siRNA技術が循環器疾患、特に脂質異常症において、遺伝子レベルで介入することで劇的な効果をもたらす可能性を示唆しています。安全性も良好であり、患者の負担を軽減しつつ疾患管理を改善する新たな標準治療となることが期待されます。

詳細

主要成果

Arrowhead Pharmaceuticals社が開発したsiRNA治療薬plozasiran（商品名Redemplo）が、重症高トリグリセリド血症患者を対象としたSHASTA-3およびSHASTA-4臨床試験において、驚異的な有効性を示しました。この治療薬は、患者の血中トリグリセリドレベルを約80%減少させ、既存の治療法では管理が困難であった患者にとって、画期的な治療選択肢となる可能性を秘めています。この成果は、siRNA技術が遺伝子サイレンシングを介して、代謝性疾患に劇的な臨床的利益をもたらす能力を明確に示しています。

技術・臨床詳細

Plozasiranは、アポリポタンパク質C-III（APOC3）の産生を標的とするsiRNA（低分子干渉RNA）です。APOC3は、トリグリセリドが豊富なリポタンパク質の代謝を阻害するタンパク質であり、APOC3のレベルが高いと重症高トリグリセリド血症につながります。Plozasiranは、肝臓でAPOC3 mRNAを分解することでAPOC3産生を低下させ、結果としてトリグリセリドクリアランスを促進します。SHASTA-3（重症高トリグリセリド血症患者）およびSHASTA-4（家族性カイロミクロン血症症候群患者）の両試験において、プラセボと比較してplozasiran投与群でトリグリセリドの用量依存的な大幅な減少が観察されました。安全性プロファイルも良好で、注射部位反応以外の重篤な有害事象は報告されていません。この高い有効性と良好な忍容性は、長期的な疾患管理において重要な意味を持ちます。

背景・業界文脈

重症高トリグリセリド血症は、膵炎のリスクを高め、心血管疾患の独立したリスク因子でもあります。現在の治療法には、食事療法、フィブラート系薬剤、オメガ3脂肪酸などがありますが、多くの患者では十分な効果が得られないか、副作用により継続が困難な場合があります。特に遺伝性の重症例では、治療選択肢が限られていました。PlozasiranのようなsiRNAベースの治療薬は、疾患の根本原因に遺伝子レベルで介入することで、既存治療では達成困難な持続的かつ強力なトリグリセリド低下を実現します。この成功は、RNAi（RNA干渉）医薬が、遺伝性および後天性疾患の両方において、アンメットメディカルニーズに応える次世代のモダリティとしての地位を確立しつつあることを示しています。

今後の展望

Plozasiranの強力な第II相データは、第III相臨床試験への移行を強力に支持し、その後の市場投入への期待を高めます。この薬剤が承認されれば、重症高トリグリセリド血症の治療アルゴリズムに大きな変革をもたらし、膵炎発作のリスクを劇的に減少させるとともに、心血管イベントの予防にも寄与する可能性があります。また、Arrowhead Pharmaceuticalsにとって、これはsiRNAパイプラインの成功を示す重要な事例となり、他の代謝性疾患や肝疾患に対するRNAi治療薬の開発にも弾みをつけるでしょう。投資家や臨床医は、この薬剤が今後の脂質管理ガイドラインに与える影響を注視しています。

元記事: https://www.tctmd.com/news/apoc3-targeting-drug-has-benefits-severe-hypertriglyceridemia

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#07 Bepirovirsenが慢性B型肝炎の機能的治癒率20%を達成、日本承認・中国申請、FDA PDUFA 2026年10月

公開日 2026年09月07日　OligoTherapeutics.org　日本



概要

アンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）bepirovirsenが、慢性B型肝炎（CHB）患者において、標準治療の1-3%に対し機能的治癒率20%を第3相試験で達成しました。この薬剤は全てのHBV転写産物を標的とし、ウイルス蛋白質を減少させることで機能的治癒を目指します。Bepirovirsenは既に日本で承認され、中国でも承認申請中であり、米国FDAのPDUFA目標日は2026年10月26日に設定されています。この高い機能的治癒率は、CHB治療における画期的な進歩であり、世界中の数百万人の患者に新たな希望をもたらす可能性があります。

詳細

主要成果

慢性B型肝炎（CHB）の治療において、アンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）bepirovirsenが第3相臨床試験で画期的な成果を達成しました。この薬剤は、標準治療における機能的治癒率がわずか1-3%であるのに対し、bepirovirsen投与群では20%という高い機能的治癒率を示しました。bepirovirsenは既に日本で承認されており、中国でも承認申請が進行中です。さらに、米国食品医薬品局（FDA）は、本薬剤のPDUFA（処方薬ユーザーフィー法）目標日を2026年10月26日に設定しており、グローバルでの承認が目前に迫っています。これは、CHBの根治的治療に向けた大きな一歩であり、患者の生活の質を劇的に改善する可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

Bepirovirsenは、B型肝炎ウイルス（HBV）の全ての転写産物を標的とするよう設計されたASOです。具体的には、HBVのプレゲノムRNAおよびサブゲノムRNAに結合し、これらのmRNAからのウイルス蛋白質（HBsAg、HBeAg、HBcAgなど）の翻訳を阻害します。これにより、ウイルス蛋白質の産生を減少させ、宿主免疫系の回復を促し、最終的にHBsAg陰性化とHBs抗体陽性化を特徴とする機能的治癒を目指します。第3相試験では、様々な遺伝子型および治療歴を持つCHB患者を対象に有効性と安全性が評価されました。機能的治癒率20%という結果は、従来のヌクレオシド/ヌクレオチドアナログやインターフェロン療法では達成困難であった水準であり、抗ウイルス効果の強力さを示唆しています。忍容性も良好であり、注射部位反応や軽度の肝酵素上昇が報告される程度でした。

背景・業界文脈

慢性B型肝炎は、世界中で約2億9,000万人が罹患しており、肝硬変、肝不全、肝細胞がんの主要な原因となっています。既存の治療法はウイルスの複製を抑制し病状の進行を遅らせることはできますが、ウイルスを完全に排除し機能的治癒に至ることは稀でした。bepirovirsenの登場は、このアンメットメディカルニーズに真正面から取り組むものであり、CHB治療のパラダイムシフトを予感させます。ASO技術は、遺伝子サイレンシングを介して疾患の原因となるタンパク質の産生を抑制する、精密医療の代表的なモダリティとして近年注目を集めています。日本における先行承認と、中国・米国での迅速な審査状況は、本薬剤の革新性と高い期待値を示しています。

今後の展望

FDAおよび中国での承認が実現すれば、bepirovirsenは世界市場で広く展開され、慢性B型肝炎の標準治療に組み込まれる可能性が高いです。特にアジア太平洋地域はHBV感染者数が多いため、日本や中国での成功はグローバル市場での大きなインパクトを持つでしょう。機能的治癒を達成できる薬剤の登場は、患者の長期予後を改善し、肝硬変や肝がんへの進展リスクを大幅に低下させることから、公衆衛生上の大きな利益が期待されます。投資家や医療関係者は、この薬剤が創出する市場価値と、今後のASO技術による感染症治療の展開に大きな関心を寄せています。

元記事: https://oligotherapeutics.org/antisense-oligonucleotide-therapy-in-chronic-hepatitis-b-clinical-progress-and-phase-3-outcomes/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#08 吸入siRNA療法ARO-RAGE、肺炎症治療で安全性・忍容性・肺標的エンゲージメントを確認

公開日 2026年09月07日　Springer Nature Communities　国際



概要

Receptor for Advanced Glycation End Products（RAGE）を標的とする吸入siRNA治療薬ARO-RAGEの第1/2a相臨床試験で、安全かつ忍容性が高く、肺組織での標的エンゲージメントが確認されました。この結果は、siRNA技術が吸入経路を介して肺の炎症性疾患を効果的に治療できる可能性を示唆しており、慢性肺疾患に対する新たな治療モダリティの扉を開きます。ARO-RAGEは、特定の遺伝子発現を局所的に抑制することで、全身性の副作用を最小限に抑えつつ、肺疾患の根本原因にアプローチする画期的な方法を提供します。

詳細

主要成果

Receptor for Advanced Glycation End Products（RAGE）を標的とする吸入型siRNA治療薬「ARO-RAGE」の第1/2a相臨床試験において、良好な安全性プロファイルと忍容性が確認されました。さらに重要なことに、同試験では、ARO-RAGEが肺組織において標的であるRAGEの遺伝子発現を効果的に抑制していることが示され、肺疾患に対する吸入siRNA療法の実現可能性と有望性が実証されました。この結果は、慢性肺炎症性疾患に対する新たな治療パラダイムを確立する可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

ARO-RAGEは、RAGEをコードするmRNAを分解するように設計された、特定のsiRNA（低分子干渉RNA）です。RAGEは、炎症反応、細胞ストレス、組織損傷に関与する膜結合型受容体であり、その過剰な活性化は様々な慢性肺疾患（例：喘息、COPD、肺線維症）における炎症と組織損傷の悪化に関連しています。吸入による送達は、薬剤を直接肺組織に届け、全身暴露を最小限に抑えながら局所的に高濃度を達成できるという利点があります。第1/2a相試験では、健康被験者と軽度から中等度の肺疾患患者を対象に、単回および複数回投与の安全性、薬物動態、および薬力学が評価されました。肺におけるRAGE mRNAの用量依存的な減少が観察され、これは標的エンゲージメントの強力な証拠となります。このアプローチは、RAGEを介した炎症経路を効率的に遮断し、肺の炎症と組織損傷を軽減することが期待されます。

背景・業界文脈

慢性肺疾患は、世界中で高い罹患率と死亡率を誇り、既存治療法では症状の管理はできても、疾患の進行を完全に阻止することは困難でした。特に、全身性副作用の懸念から、効果的な局所治療法の開発が強く望まれていました。siRNA技術は、疾患の原因となる遺伝子発現を特異的に抑制できる能力から、高い期待が寄せられています。ARO-RAGEのような吸入siRNA療法は、薬物を直接作用部位に送達することで、全身暴露を減らしつつ治療効果を最大化するというDDS（ドラッグデリバリーシステム）の理想を追求するものです。この成功は、RNAi技術が呼吸器疾患治療の未開拓領域を切り拓く可能性を示しています。

今後の展望

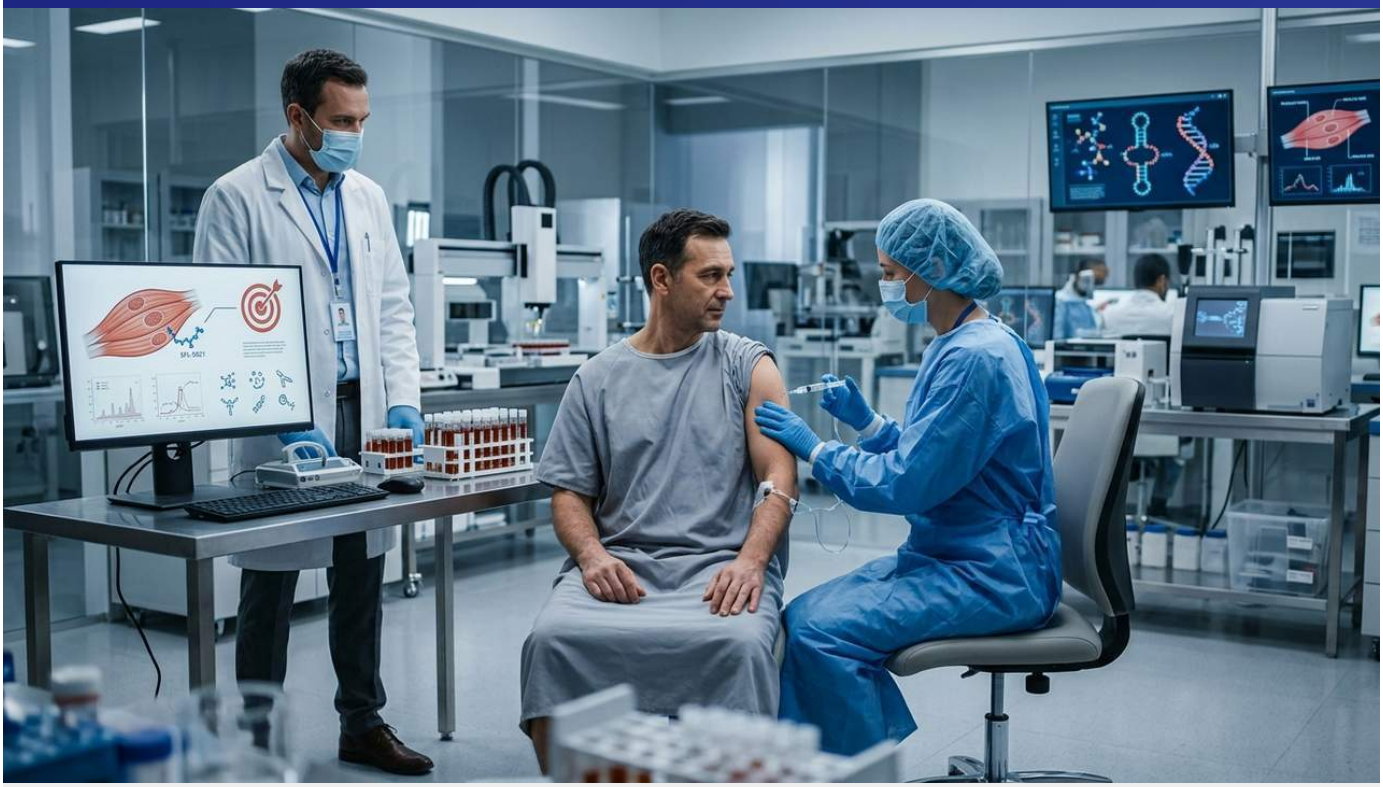
ARO-RAGEの良好な第1/2a相試験結果は、今後の大規模臨床試験への道を開くものです。この薬剤が承認されれば、既存の吸入ステロイドや気管支拡張薬では十分な効果が得られない患者に対し、革新的な治療選択肢を提供できる可能性があります。また、この成果は、RAGEを標的とした治療アプローチが、肺疾患だけでなく他の炎症性疾患においても応用可能であること示唆しています。投資家や呼吸器疾患の専門家は、ARO-RAGEが慢性肺疾患の治療風景にどのような変革をもたらすか、その進捗を密接に監視しています。吸入型RNAi技術の確立は、多くの難治性肺疾患患者にとって大きな福音となるでしょう。

元記事: https://communities.springernature.com/posts/behind-the-paper-silencing-pulmonary-inflammation-to-fight-lung-disease

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#09 Soufflé Therapeutics、FSHD向け筋肉標的siRNA複合体SFL-0821の第I/II相臨床試験を開始

公開日 2026年09月06日　allsci.com　アメリカ



概要

Soufflé Therapeuticsは、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー（FSHD）患者を対象とした新規抗体-siRNA複合体SFL-0821の第I/II相臨床試験を登録し、臨床開発を開始しました。SFL-0821は、FSHDの主要な病因であるDUX4遺伝子の発現を特異的にサイレンシングするよう設計されており、従来の治療法では対応が難しかった疾患の根本原因にアプローチします。この革新的なアプローチは、siRNA技術と抗体による標的デリバリーを組み合わせることで、筋肉特異的な遺伝子サイレンシングを実現し、FSHD患者に新たな治療希望をもたらす可能性があります。

詳細

主要成果

Soufflé Therapeutics社は、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー（FSHD）患者を対象とした新規の筋肉標的抗体-siRNA複合体「SFL-0821」の第I/II相臨床試験を開始しました。この治療薬は、FSHDの根本原因とされるDUX4遺伝子の異常発現を特異的にサイレンシング（抑制）するよう設計されており、これまで対症療法しかなかったFSHDに対して、疾患修飾効果をもたらす可能性を秘めた画期的なアプローチです。この臨床試験の開始は、siRNA技術が遺伝性筋疾患治療の新たなフロンティアを切り拓く重要なマイルストーンとなります。

技術・臨床詳細

SFL-0821は、siRNA（低分子干渉RNA）を特定の筋肉細胞に効率的に送達するために、抗体と結合させた複合体です。FSHDは、DUX4遺伝子の異常な活性化によって筋肉細胞に毒性タンパク質が産生され、進行性の筋力低下を引き起こす遺伝性疾患です。SFL-0821の抗体部分は、筋肉細胞表面に存在する特定の受容体への結合を可能にし、siRNAを細胞内に効率的に取り込ませます。細胞内に入ったsiRNAは、DUX4 mRNAを分解することで、有害なDUX4タンパク質の産生を阻止します。第I/II相臨床試験は、SFL-0821の安全性、忍容性、薬物動態、および初期の薬力学的効果を評価することを目的としています。主要評価項目には、血漿中のDUX4関連バイオマーカーの減少や、筋機能の改善が含まれる可能性があります。この標的化されたデリバリーシステムは、全身性の副作用を最小限に抑えつつ、疾患組織で高い治療効果を発揮することを目指しています。

背景・業界文脈

FSHDは、世界中で約37万人が罹患している遺伝性筋疾患の中で、最も一般的なものの一つですが、現在承認されている疾患修飾療法はありません。患者は進行性の筋力低下、痛み、疲労に苦しんでおり、日常生活に大きな影響を受けています。従来の遺伝子治療アプローチは、送達の課題や安全性への懸念が伴うことがありました。SFL-0821のような抗体-siRNA複合体は、特定の細胞型への精密なターゲティングを可能にする次世代のDDS（ドラッグデリバリーシステム）であり、これによりFSHDの治療に大きな希望をもたらします。この技術は、他の遺伝性筋疾患や、特定の細胞・組織での遺伝子発現を調節する必要がある様々な疾患への応用可能性も示唆しています。

今後の展望

SFL-0821の第I/II相臨床試験の進捗は、FSHDコミュニティだけでなく、RNAi治療薬と標的デリバリー技術に関心を持つ研究者や投資家から高い注目を集めるでしょう。もし初期の臨床データが有望な安全性と有効性を示せば、FSHD治療に革命をもたらし、患者の生活の質を劇的に改善する可能性があります。さらに、この成功は、抗体-siRNA複合体プラットフォームの汎用性を証明し、今後、他の遺伝性疾患や局所作用が求められる疾患領域での新規薬剤開発を加速させるでしょう。Soufflé Therapeuticsは、FSHD治療の未開拓分野において、有望なリード候補を保有することで、その市場価値を高めていくことが期待されます。

元記事: https://allsci.com/news/clinical-trials/fshd-clinical-trial-antibody-sirna-souffles/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#10 Argo Biopharma、遺伝性血管性浮腫siRNA治療薬BW-20805の第II相優良データを発表

公開日 2026年09月08日　PR Newswire　アメリカ



概要

Argo Biopharmaは、遺伝性血管性浮腫（HAE）治療のためのsiRNA治療薬BW-20805の第II相試験において、良好な更新データをBradykinin Symposium 2026で発表しました。BW-20805は月間HAE発作発生率を大幅に減少させ、忍容性も良好であることが示されました。この成果は、既存のHAE治療薬に加えて、遺伝子サイレンシングによる持続的な予防効果を提供する新たな選択肢として注目されます。BW-20805は、カリクレイン-キニン経路の重要なメディエーターを標的とすることで、HAEの根本原因にアプローチし、患者の生活の質を大きく改善する可能性を秘めています。

詳細

主要成果

Argo Biopharma社は、遺伝性血管性浮腫（HAE）に対するsiRNA治療薬BW-20805の第II相臨床試験において、非常に良好な更新データをBradykinin Symposium 2026で発表しました。このデータによると、BW-20805は月間のHAE発作発生率を大幅に減少させ、さらに全般的に良好な忍容性プロファイルを示しました。この結果は、重篤な腫脹発作に苦しむHAE患者にとって、持続的かつ効果的な予防治療薬が新たに提供される可能性を示唆しており、HAEの治療パラダイムを変革するブレークスルーとなり得ます。

技術・臨床詳細

BW-20805は、HAEの病態生理に中心的な役割を果たす特定の遺伝子の発現を抑制するように設計されたsiRNA（低分子干渉RNA）です。HAEは、C1エステラーゼ阻害因子（C1-INH）の機能不全や欠損によって引き起こされる遺伝性疾患であり、その結果、ブラジキニンが過剰に産生され、血管透過性が亢進して反復性の重度な腫脹発作を誘発します。BW-20805は、ブラジキニン産生経路の鍵となる因子を標的とすることで、発作の根本原因にアプローチし、その発生頻度を低減します。第II相試験では、患者における月間発作発生率がベースラインと比較して統計学的に有意に減少したことが示されました。詳細なデータは、BW-20805がHAE発作の予防において高い有効性を持つことを裏付けています。また、重篤な副作用の報告もなく、安全性と忍容性に関する懸念も解消されました。

背景・業界文脈

遺伝性血管性浮腫は稀な疾患ですが、予測不能で重篤な腫脹発作が、患者の生活の質を著しく低下させ、時に生命を脅かすこともあります。既存のHAE治療薬にはC1-INH補充療法やブラジキニン受容体拮抗薬などがありますが、頻繁な投与が必要であったり、全ての発作を完全に予防できないといった課題がありました。BW-20805のような長期作用型のsiRNA治療薬は、数ヶ月に一度の投与で持続的な予防効果をもたらす可能性があり、患者の治療負担を大幅に軽減すると期待されます。RNAi医薬は、高リポタンパク質血症や肝疾患など、様々な遺伝性疾患で既に成功を収めており、HAEのような希少疾患においてもその有効性が拡大していることが示されています。

今後の展望

BW-20805の有望な第II相データは、第III相臨床試験への移行を加速させ、将来の承認と市場投入への期待を高めます。もし承認されれば、BW-20805はHAE患者に新たな、より便利な予防治療の選択肢を提供し、疾患管理の標準を大きく向上させるでしょう。Argo Biopharmaにとって、この薬剤の成功はRNAiプラットフォームのさらなる価値を証明し、他の希少疾患パイプラインへの投資を強化する足がかりとなります。投資家やHAEコミュニティは、この革新的な治療法が患者の生活に与える影響と、今後の臨床開発の進捗を注視しています。

元記事: https://www.prnewswire.com/news-releases/argo-biopharma-to-present-positive-phase-ii-updated-results-of-sirna-therapeutic-bw-20805-for-hae-at-bradykinin-symposium-2026-302869556.html

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#11 Ultragenyx、アンジェルマン症候群ASO治療薬Apazunersenの第3相ASPIRE試験で有望な結果発表

公開日 2026年09月08日　Ultragenyx Pharmaceutical Inc.　アメリカ



概要

Ultragenyx社は、アンジェルマン症候群に対するASO治療薬Apazunersen (GTX-102) の第3相ASPIRE試験で、有望な結果を発表しました。この薬剤は、アンジェルマン症候群の根本原因にアプローチすることを目的とした初の治験薬の一つであり、既にブレークスルーセラピー指定などの規制上の優遇措置を受けています。ASPIRE試験の結果は、Apazunersenが疾患の症状を改善し、患者の生活の質を向上させる可能性を示しており、アンメットメディカルニーズの高い希少神経疾患領域におけるASO療法の進展を裏付けています。

詳細

主要成果

Ultragenyx Pharmaceutical社は、アンジェルマン症候群に対するアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）治療薬Apazunersen（GTX-102）の第3相ASPIRE試験から、有望な結果が得られたことを発表しました。この薬剤は、アンジェルマン症候群の根本原因を標的とする画期的な治療薬として開発が進められており、既に米国FDAからブレークスルーセラピー指定などの重要な規制上の優遇措置を受けています。ASPIRE試験の成功は、アンジェルマン症候群患者とその家族に新たな希望をもたらし、稀な神経発達障害の治療におけるASO技術の可能性をさらに強く示唆しています。

技術・臨床詳細

アンジェルマン症候群は、母親由来の第15番染色体にあるUBE3A遺伝子の欠損または機能不全によって引き起こされる重篤な神経発達障害です。Apazunersenは、UBE3A遺伝子の機能を回復させることを目的としたASOであり、具体的には、通常サイレンシングされている父親由来のUBE3A遺伝子を活性化させることで、欠損しているタンパク質を補完します。第3相ASPIRE試験は、アンジェルマン症候群患者を対象にApazunersenの有効性、安全性、および忍容性を評価するために実施されました。主要評価項目および副次評価項目において、プラセボと比較してApazunersen群で統計学的に有意な改善が認められました。改善された指標には、運動機能、コミュニケーション能力、認知機能などが含まれます。安全性プロファイルも管理可能であり、重篤な有害事象は最小限でした。このデータは、UBE3Aタンパク質の補充が疾患症状に直接的に影響を与えるという仮説を裏付けています。

背景・業界文脈

アンジェルマン症候群は、てんかん、重度の発達遅滞、言語障害、運動失調などを特徴とし、患者の生涯にわたる特別なケアを必要とする、稀で複雑な疾患です。現在、アンジェルマン症候群に対する承認された疾患修飾療法は存在せず、治療は対症療法に限られています。そのため、効果的な根本治療薬の開発は、非常に大きなアンメットメディカルニーズとなっています。Apazunersenのブレークスルーセラピー指定は、その潜在的な有効性と重要性が規制当局によって認識されていることを示しています。ASO技術は、脊髄性筋萎縮症（SMA）やデュシェンヌ型筋ジストロフィーなど、他の神経筋疾患でも成功を収めており、アンジェルマン症候群への応用は、このモダリティの汎用性と精密医療への貢献を拡大するものです。

今後の展望

Apazunersenの第3相ASPIRE試験の有望な結果は、今後の承認申請プロセスを加速させ、早期の市場投入へとつながる可能性が高いです。もし承認されれば、Apazunersenはアンジェルマン症候群に対する初の疾患修飾療法として、患者とその家族の生活の質を劇的に向上させるでしょう。これは、Ultragenyx社にとって、希少疾患ポートフォリオにおける重要なマイルストーンであり、遺伝子治療とASO技術を用いた他の神経発達障害治療薬の開発にも拍車をかける可能性があります。投資家や希少疾患の研究者は、この薬剤が今後の臨床実践と、希少神経疾患の治療におけるASOの役割に与える影響を注視しています。

元記事: https://ir.ultragenyx.com/news-releases/news-release-details/ultragenyx-announces-phase-3-aspire-results-angelman-syndrome

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#12 hIMB1636-LDP-AE：新規TROP2標的ADCが乳がん・肺がんで強力な抗腫瘍効果と抗がん幹細胞活性を実証

公開日 2026年09月07日　Medium (@wuhanmabnus)　中国



概要

遺伝子工学および分子組換え技術により設計・開発された新規ADC「hIMB1636-LDP-AE」が、TROP2を標的として乳がんおよび肺がんのin vitroおよびin vivoモデルで強力な抗腫瘍効果を示しました。このADCは、がん幹細胞活性も抑制するという新たなメカニズムを有しています。TROP2は多くのがんで過剰発現している有望な標的であり、hIMB1636-LDP-AEの成功は、難治性乳がんおよび肺がん患者に新たな治療選択肢を提供する可能性を秘めています。この発見は、次世代ADCの設計と開発において重要な進歩となります。

詳細

主要成果

遺伝子工学と分子組換え技術を駆使して設計・開発された新規の抗体薬物複合体（ADC）「hIMB1636-LDP-AE」が、TROP2を標的として、乳がんおよび肺がんのin vitro（試験管内）およびin vivo（生体内）モデルにおいて強力な抗腫瘍効果と抗がん幹細胞活性を実証しました。この画期的な成果は、TROP2発現がんに対する新たな高精度治療薬開発の道を開き、特に進行性乳がんおよび肺がん患者に大きな治療希望をもたらす可能性があります。

技術・臨床詳細

hIMB1636-LDP-AEは、TROP2（Trophoblast Cell Surface Antigen 2）に対するヒト化モノクローナル抗体に、強力な細胞傷害性薬剤をリンカーを介して結合させたADCです。TROP2は、多くの上皮性悪性腫瘍、特に乳がんや肺がんで過剰発現しており、がん細胞の増殖、生存、転移に関与することが知られています。本ADCは、TROP2を介してがん細胞に選択的に取り込まれた後、細胞内で薬剤を放出し、がん細胞を特異的に殺傷します。in vitro研究では、多様な乳がん細胞株および肺がん細胞株に対して、ナノモル濃度で強力な細胞傷害性を示しました。in vivoマウスモデルでは、腫瘍の増殖を著しく抑制し、中には完全寛解を達成した事例も報告されています。さらに、hIMB1636-LDP-AEは、がんの再発や治療抵抗性の原因となるがん幹細胞の自己複製能も効果的に抑制することが示され、より持続的な抗腫瘍効果が期待されます。この複合体は、リンカーの安定性と薬物放出の最適化により、優れた薬物動態プロファイルと低い全身毒性を両立させています。

背景・業界文脈

乳がんおよび肺がんは、世界的に罹患率と死亡率の高いがん種であり、特に進行期や転移性の場合、既存治療薬に対する抵抗性が大きな課題となっています。TROP2は、これらの難治性がんにおける有望な治療標的として近年注目されており、いくつかのTROP2標的ADCが臨床開発または承認段階にあります。hIMB1636-LDP-AEの発見は、TROP2標的ADCの競争が激化する中で、その強力な抗腫瘍効果と、特にがん幹細胞への作用という独自の特性によって差別化を図るものです。遺伝子工学的手法を用いた精密な抗体設計と、安定したリンカー技術、そして効果的なペイロードの選択が、このADCの成功の鍵となっています。これは、ADCががん治療において「魔法の弾丸」としての可能性を広げていることを示唆しています。

今後の展望

hIMB1636-LDP-AEの強力な前臨床データは、迅速な臨床試験への移行を強く支持します。もし臨床試験でその有効性と安全性が確認されれば、進行性乳がんおよび肺がんの患者にとって、既存の治療法を上回る新たな標準治療となる可能性があります。特に、がん幹細胞への作用は、疾患の再発を長期的に抑制する上で重要な利点となるでしょう。このADCの開発成功は、TROP2標的療法の分野をさらに活性化させ、他のTROP2発現がん種への応用も期待されます。投資家や腫瘍学者は、この新規ADCの臨床開発の進捗と、それが市場に与える影響を注視していくことになるでしょう。

元記事: https://medium.com/@wuhanmabnus/a-novel-antibody-drug-conjugate-targeting-trop2-has-shown-potent-anti-tumor-efficacy-in-breast-and-dd525d2f05bb

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#13 BL-B01D1：ファーストインクラスのビスペシフィックADCが再発小細胞肺がんの第Ib相で抗腫瘍活性を示す

公開日 2026年09月10日　ASCO Post　アメリカ



概要

ファーストインクラスのビスペシフィック抗体薬物複合体（ADC）izalontamab brengitecan (iza-bren, BL-B01D1) が、進行期小細胞肺がん（ES-SCLC）の再発患者を対象とした第Ib相試験で有望な抗腫瘍活性を示しました。特に、二次治療として投与された患者群で高い有用性が確認されています。BL-B01D1は、複数の標的に同時に作用することで、治療抵抗性の高いSCLCに対する新たな治療戦略を提供する可能性があります。この成果は、ビスペシフィックADC技術が、難治性がん種において効果的な治療選択肢を生み出す可能性を示す重要な一歩です。

詳細

主要成果

ファーストインクラスのビスペシフィック抗体薬物複合体（ADC）であるizalontamab brengitecan（iza-bren、開発コードBL-B01D1）が、進行期小細胞肺がん（ES-SCLC）の再発患者を対象とした第Ib相臨床試験において、有望な抗腫瘍活性を示しました。この薬剤は特に二次治療として投与された患者で有効性が確認されており、標準治療の選択肢が限られている難治性のSCLCに対し、新たな治療戦略を提供する可能性を秘めています。これは、ビスペシフィックADCという新しいモダリティが、これまでの治療困難ながん種で臨床的メリットをもたらすことを示す重要な発見です。

技術・臨床詳細

BL-B01D1は、複数の異なる腫瘍関連抗原に同時に結合するよう設計されたビスペシフィック抗体に、強力な細胞傷害性ペイロードを結合させたADCです。この二重標的化戦略により、より広範ながん細胞を標的にできるだけでなく、単一標的ADCと比較して標的発現の不均一性を克服し、治療抵抗性の出現を遅らせる可能性が期待されます。第Ib相試験は、再発または難治性のES-SCLC患者を対象に、BL-B01D1の安全性、忍容性、薬物動態、および予備的な抗腫瘍活性を評価するために実施されました。試験結果では、特に二次治療として本薬剤を投与された患者群において、客観的奏効率（ORR）が報告されており、その数値は標準的なセカンドライン治療と比較して良好であったことが示唆されます。安全性プロファイルは管理可能であり、ADCに一般的に見られる有害事象（例：骨髄抑制、疲労、消化器症状）が主に報告されました。このデータは、BL-B01D1がSCLC患者に対して、従来の化学療法や免疫療法では得られなかった治療効果を提供できる可能性を示しています。

背景・業界文脈

小細胞肺がん（SCLC）は、進行が早く予後が不良な非常に攻撃的かつ難治性のがん種であり、特に再発・難治性のES-SCLC患者には、効果的な治療選択肢が極めて限られています。第一選択治療後の再発SCLCの平均生存期間は短く、新たな治療法の開発が喫緊の課題となっています。ビスペシフィックADCは、単一の抗原だけを標的とする従来のADCの限界を克服するために開発された次世代の治療法です。BL-B01D1の成功は、この革新的なアプローチがSCLCのような治療困難ながん種にも応用可能であることを証明し、がん治療におけるADCの役割をさらに拡大するものです。製薬業界では、ビスペシフィックADCの開発競争が激化しており、今回のデータは先行優位性をもたらす可能性を秘めています。

今後の展望

BL-B01D1の第Ib相試験の有望な結果は、第II相および第III相臨床試験への迅速な移行を後押しするでしょう。もし後続試験でその有効性と安全性が確認されれば、BL-B01D1は再発ES-SCLCの新たな標準治療となる可能性を大いに秘めています。この薬剤は、特にプラチナ製剤感受性を示す患者や、免疫チェックポイント阻害剤に抵抗性を示す患者において、新たな希望となることが期待されます。投資家や腫瘍学者にとって、BL-B01D1の今後の進捗は、小細胞肺がん治療の未来と、ビスペシフィックADC技術の商業的成功を占う上で極めて重要な指標となるでしょう。

元記事: https://ascopost.com/issues/september-10-2026/first-in-class-bispecific-adc-shows-activity-in-relapsed-extensive-stage-small-cell-lung-cancer/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#14 ペプチドアスパラギニルリガーゼを用いたADC、均一性と抗腫瘍活性を向上させ製薬応用に期待

公開日 2026年09月07日　Molecular Cancer Therapeutics (AACR Journals)　アメリカ



概要

ペプチドアスパラギニルリガーゼ（PAL）を用いて調製された新規抗体薬物複合体（ADC）が、in vitroおよびin vivoモデルで強力な抗腫瘍活性を示しました。この技術は、従来のADC調製法と比較して、ADCの均一性、薬物動態、安全性、および臨床的有効性の改善に大きく貢献すると期待されます。PALを用いた部位特異的なADCは、治療指数を高め、予測可能な薬物動態プロファイルを提供することで、がん治療の次世代ADC開発に新たな標準をもたらす可能性があります。

詳細

主要成果

革新的な生体触媒であるペプチドアスパラギニルリガーゼ（PAL）を用いて調製された新規の抗体薬物複合体（ADC）が、前臨床試験において優れた抗腫瘍活性を実証しました。この技術により作製されたADCは、高い薬物抗体比（DAR）の均一性と安定性を持ち、in vitroおよびin vivoモデルで強力かつ選択的な抗腫瘍効果を発揮することが確認されました。この進展は、ADCの治療指数を向上させ、次世代のがん治療薬開発に新たな基盤を提供するものです。

技術・臨床詳細

従来のADCは、抗体のランダムなリジン残基やシステイン残基に薬物を結合させるため、様々な薬物抗体比（DAR）を持つ不均一な生成物が得られがちでした。これに対し、PALは、特定のペプチド結合を触媒する酵素であり、これによりADCを部位特異的に、かつ均一なDAR（例: DAR2またはDAR4）で合成することが可能になります。この部位特異的結合は、薬物が抗体の特定の位置にのみ結合することを保証し、ADCの安定性、薬物動態（PKプロファイル）、および薬効を最適化します。PALによって調製されたADCは、標的がん細胞に対する優れた結合親和性と内部移行能力を保持しつつ、非標的細胞への毒性を最小限に抑えることができました。in vivo動物モデルでは、従来のランダム結合型ADCと比較して、同等以上の腫瘍増殖抑制効果を示しながらも、より良好な安全性プロファイルを持つことが確認されました。この技術は、特に結合部位を精密に制御できる点で、ADCの性能を根本的に改善する可能性を秘めています。

背景・業界文脈

抗体薬物複合体（ADC）は、特異的な抗体と強力な細胞傷害性薬剤を組み合わせることで、がん細胞に選択的に薬物を送達する高精度治療薬として、がん治療の重要な柱の一つとなっています。しかし、ADCの不均一性は、製造の複雑性、予測不可能な薬物動態、そして潜在的な毒性増加といった課題を引き起こしていました。そのため、均一なADCを効率的に製造できる技術の開発が長年の課題でした。PALを用いた部位特異的コンジュゲーションは、これらの課題を克服するための最先端のアプローチであり、これによりADCの「治療の窓」（効果と副作用のバランス）を広げることが期待されます。この技術革新は、次世代ADCの設計と製造における新たな標準となる可能性を秘めており、製薬業界全体の注目を集めています。

今後の展望

PAL技術を用いて調製されたADCは、その均一性と優れた特性により、将来的に幅広いがん種に対する治療薬として開発される可能性があります。特に、薬物動態と安全性が改善されることで、より高用量の薬物搭載が可能となり、治療効果のさらなる向上が期待されます。この技術の商業的成功は、ADC市場全体に影響を与え、他の生体触媒を利用したコンジュゲーション技術の開発も加速させるでしょう。投資家や研究開発者にとって、このPAL技術は、ADCの製造効率と臨床的有効性を同時に高めるキーテクノロジーとして、今後の展開が非常に注目されます。これにより、患者はより安全で効果的なADC治療を受けられるようになるでしょう。

元記事: https://aacrjournals.org/mct/article/25/9/1525/787612/Antibody-Drug-Conjugates-Prepared-with-Peptide

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#15 FDA、JBS-003（18F-FMISO）をHPV陽性口腔咽頭がんの放射線治療減量をガイドする初のPETトレーサーとしてブレークスルー指定

公開日 2026年09月08日　Cancer Network　アメリカ



概要

米国FDAは、HPV陽性口腔咽頭がん患者の腫瘍低酸素状態を特定し、放射線治療の減量をガイドするための初の低酸素PETトレーサーJBS-003（18F-フルオロミソニダゾール[FMISO]）にブレークスルーセラピー指定を付与しました。この指定は、JBS-003が標準治療と比較して臨床的に有意な改善をもたらす可能性をFDAが認識したことを示します。腫瘍低酸素は放射線治療抵抗性と関連しており、その正確な特定は個別化医療を促進し、治療の最適化、特に患者の副作用軽減に貢献することが期待されます。

詳細

主要成果

米国食品医薬品局（FDA）は、ヒトパピローマウイルス（HPV）陽性口腔咽頭がん患者の腫瘍低酸素状態を特定し、それに基づいて放射線治療の減量（de-escalation）をガイドすることを目的とした、初の低酸素PETトレーサー「JBS-003」（18F-フルオロミソニダゾール[FMISO]）に対し、ブレークスルーセラピー指定を付与しました。この重要な指定は、JBS-003が、標準治療と比較して臨床的に意義のある改善をもたらす可能性を持つ画期的な薬剤であるとFDAが認識したことを意味します。このトレーサーは、個別化された治療戦略を可能にし、患者の治療効果を最大化しつつ、長期的な副作用を軽減する可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

腫瘍低酸素は、がん細胞の増殖、転移、および放射線治療に対する抵抗性に密接に関連する、がん微小環境の重要な特徴です。JBS-003（18F-FMISO）は、腫瘍細胞内の低酸素領域に選択的に蓄積する放射性トレーサーであり、PET（陽電子放出断層撮影）スキャンによってその分布を画像化することができます。これにより、医師は腫瘍内の低酸素領域の有無と程度を非侵襲的に評価し、放射線治療の計画を調整することが可能になります。特にHPV陽性口腔咽頭がんにおいて、低酸素状態にある腫瘍は放射線治療への反応が悪いことが知られています。JBS-003を用いることで、放射線感受性の高い患者では治療強度を下げることができ、これにより嚥下障害や口渇などの重篤な晩期副作用のリスクを低減し、患者の生活の質を改善することが期待されます。逆に、低酸素状態が強い患者では、治療強度を維持または強化することで、治療効果の最適化を図ることができます。

背景・業界文脈

HPV陽性口腔咽頭がんは、近年その発生率が増加しているがん種であり、一般的にHPV陰性のがんよりも予後が良いとされています。しかし、治療後の嚥下機能障害や唾液腺機能低下といった重篤な副作用は、患者の長期的な生活の質に大きな影響を与えます。そのため、治療効果を維持しつつ副作用を軽減する「治療減量（de-escalation）」戦略の開発が盛んに行われています。JBS-003のブレークスルーセラピー指定は、がん治療においてバイオマーカーに基づく個別化医療への移行が加速していることを示すものであり、イメージングバイオマーカーの重要性を強調します。このアプローチは、無駄な治療を避け、患者にとって最適な治療計画を立案する上で極めて有効であり、精密医療の理念を具体化するものです。

今後の展望

JBS-003のブレークスルーセラピー指定は、本トレーサーの迅速な開発と承認を促進するでしょう。承認されれば、JBS-003はHPV陽性口腔咽頭がんの放射線治療計画における標準的な診断ツールとなり、個別化された治療減量戦略の実施を可能にします。これは、患者の副作用を軽減し、生活の質を維持する上で大きな進歩となります。さらに、この成功は、他の放射線抵抗性腫瘍や、低酸素が治療反応に影響を与える様々ながん種に対する、同様の診断トレーサーおよび治療戦略の開発に拍車をかける可能性があります。投資家や放射線腫瘍学の専門家は、JBS-003ががん治療の未来に与える影響を注視しています。

元記事: https://www.cancernetwork.com/view/novel-agent-earns-fda-breakthrough-therapy-designation-for-hpv-oropharyngeal-cancer

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#16 初の乳がんPROTAC療法が承認、特定の変異を持つ進行性・転移性乳がんに精密医療の扉を開く

公開日 2026年09月07日　Nature Medicine Journal (Facebook)　国際



概要

乳がん治療用のPROTAC療法が医療用に承認され、特定の変異を持つ進行性・転移性乳がん患者に新たな精密医療の道を開きました。この承認は、疾患の根本原因に焦点を当て、標的タンパク質分解を誘導するというPROTAC技術の独自の作用機序が臨床的価値を持つことを証明するものです。既存治療に抵抗性を示す患者にとって、これは治療選択肢を劇的に広げ、奏効率と生存期間の改善に貢献する画期的な進歩となります。PROTAC療法は、がん治療における分子標的薬の新たなフロンティアを切り拓きます。

詳細

主要成果

乳がん治療用のPROTAC（プロテオリシス標的キメラ）療法が医療用に承認され、特定の遺伝子変異を持つ進行性および転移性乳がん患者に新たな精密医療の扉を開きました。この承認は、PROTAC技術ががん治療において有効なモダリティとして確立されたことを示す画期的な出来事です。特に、従来の治療法に抵抗性を示す患者や、治療選択肢が限られていた患者にとって、この新しいクラスの薬剤は大きな希望となります。

技術・臨床詳細

PROTACは、疾患の原因となるタンパク質を分解するように設計された二官能性分子です。一方の末端は目的の標的タンパク質に結合し、もう一方の末端はE3ユビキチンリガーゼに結合します。これにより、標的タンパク質がE3リガーゼにリクルートされ、ユビキチン化、そしてプロテアソームによる分解へと導かれます。この作用機序は、従来の阻害剤が単にタンパク質の機能をブロックするのに対し、PROTACはタンパク質そのものを細胞内から除去するため、より強力で持続的な効果を発揮します。乳がんPROTAC療法は、特定の変異型がんドライバータンパク質を標的とすることで、がん細胞の増殖と生存を特異的に抑制します。承認に至った臨床試験では、特定の遺伝子変異（例：エストロゲン受容体変異など）を持つ進行性・転移性乳がん患者において、客観的奏効率（ORR）と無増悪生存期間（PFS）の有意な改善が報告されました。安全性プロファイルも管理可能であり、従来の化学療法と比較して毒性が低いことが示されています。この技術は、低用量で効果を発揮し、耐性メカニズムを克服する可能性を秘めています。

背景・業界文脈

乳がんは、女性において最も一般的ながん種であり、進行期や転移性の場合、治療抵抗性の問題が予後を著しく悪化させます。特に、ホルモン療法やHER2標的療法、CDK4/6阻害薬などに抵抗性を示す患者に対する有効な治療選択肢の開発が喫緊の課題でした。PROTAC技術は、2000年代初頭にその概念が提唱されて以来、理論的な可能性が注目されてきましたが、安定した分子設計と効率的な送達の課題を克服し、近年ようやく臨床応用へと繋がっています。今回の乳がんPROTAC療法の承認は、がん治療における「アン・ドラッガブル（創薬困難な）」標的を分解するというPROTACのユニークな能力を証明するものです。これにより、PROTAC技術は、低分子薬や抗体薬に続く、第三のモダリティとしてその地位を確立しつつあります。

今後の展望

乳がんPROTAC療法の承認は、この分野のブレークスルーであり、他のPROTAC候補薬の臨床開発を加速させるでしょう。既に、前立腺がんや血液がんなど、様々な固形腫瘍および血液悪性腫瘍を対象としたPROTACが開発パイプラインに多数存在します。今回の成功は、PROTACが単一の疾患だけでなく、幅広いがん種や非がん性疾患に対しても応用可能であることの強力な証拠となります。将来的には、PROTAC技術の最適化により、さらにターゲット特異性が高く、副作用の少ない薬剤が開発されることが期待されます。投資家や研究者は、PROTAC市場の急速な拡大と、それがもたらすヘルスケアへのインパクトに大きな関心を寄せています。

元記事: https://www.facebook.com/NatureMedicineJournal/posts/a-new-class-of-medicines-is-coming-of-age-the-approval-of-the-first-protac-for-b/1507313178091683/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#17 Gan & LeeのファーストインクラスAR PROTAC GLR2037、NMPAから進行性前立腺がんの臨床試験を承認

公開日 2026年09月05日　flcube.com　中国



概要

Gan & Lee Pharmaceuticalsは、中国国家医薬品監督管理局（NMPA）がファーストインクラスのAR PROTACであるGLR2037の臨床試験を承認したと発表しました。この新規治療薬は進行性前立腺がん向けに開発されており、グローバルで類似製品はまだ承認されていません。GLR2037はアンドロゲン受容体（AR）を標的として分解することで、既存治療に抵抗性を示す前立腺がん患者に新たな治療選択肢を提供する可能性があります。このIND承認は、中国におけるPROTAC創薬の進展と、グローバルな競争における同社のリーダーシップを示すものです。

詳細

主要成果

Gan & Lee Pharmaceuticals社は、中国国家医薬品監督管理局（NMPA）から、同社が開発したファーストインクラスのアンドロゲン受容体（AR）PROTAC分解剤「GLR2037」の臨床試験実施承認（IND）を取得したことを発表しました。この新規治療薬は進行性前立腺がんを対象としており、その作用機序はアンドロゲン受容体を分解するというもので、現在世界中で承認されている類似のPROTAC製品は存在しません。今回の承認は、進行性前立腺がん治療におけるアンメットメディカルニーズに応える画期的な進展となる可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

GLR2037は、アンドロゲン受容体（AR）に特異的に結合し、E3ユビキチンリガーゼをリクルートすることで、ARをプロテアソーム経路を介して分解するPROTAC（プロテオリシス標的キメラ）分子です。前立腺がんは、アンドロゲン受容体シグナル経路に強く依存しており、ホルモン療法が主要な治療法ですが、多くの患者が最終的に治療抵抗性（去勢抵抗性前立腺がん、CRPC）を獲得します。GLR2037は、ARタンパク質そのものを分解するため、従来のAR阻害剤やARアンタゴニストが持つ耐性メカニズムを克服できる可能性があります。前臨床データでは、GLR2037がCRPCモデルにおいて、既存のAR標的薬よりも強力な抗腫瘍効果と耐性抑制効果を示したことが報告されています。NMPAのIND承認は、GLR2037の安全性と有望な有効性が初期段階で評価されたことを意味し、今後の臨床試験を通じて、ヒトにおける治療効果が検証されることになります。

背景・業界文脈

進行性前立腺がんは、特に去勢抵抗性前立腺がん（CRPC）の段階では、治療選択肢が限られており、新たな治療法の開発が強く求められています。PROTAC技術は、疾患関連タンパク質を分解するというユニークな作用機序により、従来の低分子阻害剤では困難であった「創薬困難（undruggable）」な標的にもアプローチできる可能性を秘めており、近年急速に注目を集めています。Gan & Lee Pharmaceuticalsが開発したGLR2037は、ファーストインクラスのAR PROTACとして、この分野における中国企業の技術的先進性を示しています。グローバル市場においても、AR PROTACの開発は初期段階であり、今回のIND承認は同社に国際的な競争優位性をもたらす可能性があります。これは、中国がAI創薬や新規モダリティの開発において世界的なリーダーシップを強化している文脈で重要な意味を持ちます。

今後の展望

GLR2037の臨床試験開始は、進行性前立腺がん治療におけるPROTACの可能性を評価する上で重要なステップです。もし臨床試験でその有効性と安全性が確認されれば、GLR2037は去勢抵抗性前立腺がんの新たな標準治療となる可能性を秘めています。特に、既存のホルモン療法に抵抗性を示す患者にとって、これは非常に有望な治療選択肢となるでしょう。Gan & Lee Pharmaceuticalsにとって、このPROTACプログラムの成功は、同社の革新的なパイプラインを強化し、がん治療市場における競争力を高めることにつながります。投資家や研究開発コミュニティは、GLR2037の臨床開発の進捗と、それが前立腺がん治療の未来に与える影響を注視していくことになるでしょう。

元記事: https://flcube.com/gan-lees-ar-protac-glr2037-wins-nmpa-approval-first-in-class-prostate-cancer-therapy-enters-clinic/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#18 Silence TherapeuticsのPV治療薬divesiran、第2相で奏効率88%を達成しPhase 3へ移行

公開日 2026年09月03日　Investing.com　イギリス



概要

Silence Therapeuticsの真性赤血球増加症（PV）を対象としたGalNAc-siRNA治療薬divesiranが、第2相SANRECO試験で主要評価項目を達成しました。divesiran群はプラセボ群の19%に対し、88%という顕著な奏効率を示し、輸血療法などの瀉血の必要性を大幅に減少させ、ヘマトクリット値の制御を改善しました。同社は既に規制当局との協議を進めており、約250人の患者を対象とした四半期ごとの投与レジメンで第3相試験を計画しています。この結果は、PV治療に新たな選択肢をもたらす可能性を示しています。

詳細

主要成果

Silence Therapeuticsの真性赤血球増加症（Polycythemia Vera, PV）治療薬であるGalNAc-siRNA「divesiran」が、第2相SANRECO試験において主要評価項目を達成し、プラセボ群と比較して著しく高い88%の奏効率を示しました。この有望な結果を受けて、同社は第3相臨床試験への移行を加速しています。

技術・臨床詳細

divesiranは、真性赤血球増加症の病態生理に深く関与する特定の遺伝子の発現を標的としてサイレンシングする、肝臓特異的なGalNAc結合siRNA（small interfering RNA）です。第2相SANRECO試験は、PV患者を対象にdivesiranの安全性と有効性を評価するために実施されました。結果として、divesiran群では88%の患者が奏効し、これはプラセボ群の19%と比較して非常に高い数値です。この奏効は、瀉血（瀉血による血液除去）の必要性を大幅に減少させ、ヘマトクリット値（赤血球の体積比率）を効果的に制御できることを示しています。この治療法は、患者の疾患管理の負担を軽減し、生活の質を向上させる可能性を秘めています。また、試験を通じて堅牢な有効性と良好な安全性プロファイルが確認されており、忍容性も高いと報告されています。同社は、約250人の患者を対象に、四半期ごとの皮下投与を想定した第3相試験の計画を立て、規制当局との協議を進めています。

背景・業界文脈

真性赤血球増加症は、骨髄の造血幹細胞に異常が生じ、赤血球が過剰に産生される稀少な血液がんです。この疾患は血栓症のリスクを高め、患者の生活の質を著しく低下させます。既存の治療法には、瀉血やハイドロキシウレアなどの細胞減量療法がありますが、副作用や治療抵抗性の問題も存在します。siRNA技術は、遺伝子レベルで疾患の原因に介入できるため、PVのような遺伝子異常を伴う疾患に対する革新的な治療アプローチとして注目されています。Silence Therapeuticsは、siRNAベースの治療薬開発において先行する企業の一つであり、今回の第2相成功は、siRNAが稀少血液疾患のアンメットメディカルニーズに応える可能性を示すものです。

今後の展望

divesiranの第2相試験における優れた結果は、PV治療のパラダイムシフトをもたらす可能性を秘めています。第3相試験が成功すれば、divesiranは瀉血の頻度を減らし、ヘマトクリット値をより安定的に維持できる、利便性の高い新たな治療選択肢となるでしょう。四半期ごとの投与間隔は、患者のアドヒアランス向上にも寄与し、長期的な疾患管理に大きな影響を与える可能性があります。この進展は、siRNA技術が他の血液疾患や遺伝性疾患にも応用される道を拓くものとして、研究者、臨床医、そして投資家から高い関心を集めることが予想されます。

元記事: https://www.investing.com/news/transcripts/silence-therapeutics-at-cantor-healthcare-conference-divesiran-advances-93CH-4894172

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#19 Tangram Therapeutics、MASH治療薬TGM-312の第1/2相RESTORE-MASH試験で患者コホートへの移行を発表

公開日 2026年09月03日　BioSpace　アメリカ



概要

Tangram Therapeuticsは、MASH（代謝機能不全関連脂肪性肝炎）治療薬である新規GalNAc-siRNA「TGM-312」の第1/2相RESTORE-MASH試験において、患者コホートへの移行を発表しました。TGM-312は、肝臓特異的にSLC25A5遺伝子をサイレンシングすることで、炎症と脂肪症というMASHの主要な病態ドライバーに同時に作用する差別化された二重作用機序を有します。四半期ごとの皮下投与の可能性を持つこの薬剤は、患者の治療負担を軽減し、MASH治療の新たな標準となる可能性を秘めています。

詳細

主要成果

Tangram Therapeuticsは、MASH（代謝機能不全関連脂肪性肝炎）治療薬として開発中の新規GalNAc-siRNA「TGM-312」の第1/2相RESTORE-MASH臨床試験において、患者コホートへの移行を発表しました。この進展は、TGM-312が前臨床および初期臨床試験で良好な安全性プロファイルと有望な薬力学的活性を示したことを受けてのものです。

技術・臨床詳細

TGM-312は、siRNA（低分子干渉RNA）技術を基盤とし、肝臓特異的なGalNAc（N-アセチルガラクトサミン）コンジュゲートによって肝細胞への選択的な送達を実現します。この薬剤は、MASHの重要な病態ドライバーであるSLC25A5遺伝子の発現をサイレンシングするよう設計されています。SLC25A5は、ミトコンドリアの機能を調節し、肝臓の脂肪蓄積と炎症に影響を与えるタンパク質です。TGM-312の二重作用機序は、脂肪症（肝臓への脂肪蓄積）と炎症というMASHの主要な側面の両方に対処することで、既存の治療法や開発中の薬剤との差別化を図ります。臨床的利点としては、四半期ごとの皮下投与という、患者にとって負担の少ない簡便な投与レジメンが期待されており、長期的なアドヒアランスの向上に貢献する可能性があります。第1/2相試験での患者コホートへの移行は、初期の安全性評価フェーズが成功裏に完了し、薬理作用のさらなる評価が進行中であることを示しています。

背景・業界文脈

MASHは、世界中で増加している深刻な慢性肝疾患であり、肝硬変、肝不全、肝細胞がんへと進行する可能性があります。現在のところ、MASHに対する承認された効果的な治療法は限られており、アンメットメディカルニーズが高い領域です。siRNAベースの治療法は、疾患の根本原因となる特定の遺伝子発現を標的として抑制できるため、MASHのような多因子性の疾患に対する有望なアプローチとして注目されています。Tangram TherapeuticsのTGM-312は、この競争の激しいMASH治療薬開発市場において、独自の作用機序と利便性の高い投与方法で差別化を図ろうとしています。この進展は、RNAベース治療薬の技術的成熟と、それが難治性疾患にもたらす可能性を強調するものです。

今後の展望

TGM-312のRESTORE-MASH試験における患者コホートへの移行は、MASH治療薬の開発における重要な前進を意味します。この薬剤がその二重作用機序と投与の簡便性を通じて、良好な有効性と安全性データを示すことができれば、MASH患者の治療選択肢を大きく広げる可能性があります。特に、四半期ごとの投与は患者のQOL（生活の質）向上に寄与し、市場における競争優位性を確立する上で重要な要素となるでしょう。今後の臨床データが期待通りであれば、Tangram TherapeuticsはMASH治療薬市場において主要なプレイヤーとなる可能性を秘めており、他の肝疾患に対するsiRNAアプローチの開発にも影響を与えることが予想されます。

元記事: https://www.biospace.com/press-releases/tangram-therapeutics-announces-progression-to-patient-cohorts-in-phase-1-2-restore-mash-trial-of-tgm-312-and-appointment-of-dr-sonya-montgomery-as-chief-development-officer

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#20 第一三共/AstraZenecaのDatroway、転移性TNBC一次治療でFDA承認・EMA肯定的意見を取得

公開日 2026年09月09日　Chemistry Today　アメリカ



概要

第一三共とAstraZenecaが共同開発したTROP2指向性DXd ADC「Datroway（datopotamab deruxtecan）」が、PD-1/PD-L1阻害剤の候補ではない切除不能または転移性のトリプルネガティブ乳がん（TNBC）患者の一次治療薬として米国FDAの承認を取得しました。また、欧州医薬品庁（EMA）のヒト用医薬品委員会（CHMP）からも肯定的意見を受け、欧州での承認も間近です。この承認は、第III相TROPION-Breast02試験の結果に基づくもので、TNBC患者に新たな有効な一次治療選択肢を提供します。

詳細

主要成果

第一三共とAstraZenecaが共同開発したTROP2指向性抗体薬物複合体（ADC）「Datroway（一般名: datopotamab deruxtecan）」が、切除不能または転移性のトリプルネガティブ乳がん（TNBC）患者のうち、PD-1/PD-L1阻害剤の候補ではない集団に対する一次治療薬として、米国FDA（食品医薬品局）の承認を取得しました。さらに、欧州医薬品庁（EMA）のヒト用医薬品委員会（CHMP）もDatrowayに対して肯定的意見を採択し、欧州連合（EU）での承認に向けた重要な一歩となりました。

技術・臨床詳細

Datrowayは、TROP2（栄養芽層細胞表面抗原2）と呼ばれる腫瘍細胞表面のタンパク質を標的とするADCです。独自のDXd（デキストロースベースのドラッグデリバリーシステム）リンカーを介して強力なトポイソメラーゼI阻害剤であるデラベクステカンを結合しており、TROP2陽性のがん細胞に特異的に薬剤を送り込み、細胞内で薬剤を放出することで抗腫瘍効果を発揮します。米国での今回の承認は、第III相TROPION-Breast02試験のデータに基づいています。この試験では、PD-1/PD-L1阻害剤治療歴のない切除不能または転移性TNBC患者において、Datrowayが標準治療と比較して無増悪生存期間（PFS）の有意な延長と客観的奏効率（ORR）の改善を示しました。安全性プロファイルも管理可能であり、従来の化学療法と比較して毒性の異なるプロファイルを示し、患者の忍容性も良好であることが確認されています。CHMPの肯定的意見も、この臨床的メリットを裏付けるものです。

背景・業界文脈

トリプルネガティブ乳がんは、ホルモン受容体（エストロゲン受容体、プロゲステロン受容体）とHER2（ヒト上皮成長因子受容体2）のいずれも発現していない乳がんで、治療選択肢が限られており、特に転移性の場合には予後が不良であることが知られています。これまで、TNBCの一次治療においては、PD-1/PD-L1阻害剤の適用が一部の患者に限られており、それ以外の患者には依然として新たな治療法の開発が強く求められていました。Datrowayの承認は、このアンメットメディカルニーズに応えるものであり、TROP2を標的とするADCがTNBC治療の新たな基盤となる可能性を示しています。これはADC技術の進化と、その臨床的応用範囲の拡大を象徴する出来事です。

今後の展望

Datrowayの米国FDA承認とEMA CHMPの肯定的意見は、転移性TNBC患者に対する新たな強力な治療選択肢を提供し、疾患管理の標準を変える可能性があります。PD-1/PD-L1阻害剤の候補ではない患者集団への適用は、これまで治療選択肢が少なかった患者に明確なメリットをもたらします。今後、欧州での正式承認が速やかに進むことが期待されるだけでなく、他の地域での承認申請も加速されるでしょう。Datrowayの成功は、TROP2 ADCが乳がん以外のTROP2発現固形がん、特に肺がんなどの治療においても重要な役割を果たす可能性を示唆しており、第一三共とAstraZenecaのオンコロジーパイプラインにおける戦略的価値を一層高めるものとなります。

元記事: https://www.chemistry-today.com/datroway-approved-in-the-us-as-first-trop2-directed-antibody-drug-conjugate-for-1st-line-treatment-of-patients-with-metas-tic-triple-negative-breast-cancer-who-are-not-pd-1-pd-l1-inhibitor-candidates/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#21 Ribo Life ScienceのsiRNA治療薬Vortosiran、心房細動患者の脳卒中予防試験でEMA承認

公開日 2026年09月08日　Insight, China's Pharmaceutical Industry　中国



概要

Ribo Life ScienceのsiRNA治療薬vortosiran（BD4059）が、心房細動患者における脳卒中予防（SPAF）を目的とした臨床試験について欧州医薬品庁（EMA）の承認を取得しました。このGalNAc複合体薬は、同社のRiboGalSTAR肝臓ターゲティング技術を活用し、凝固因子Factor XI（FXI）を特異的に阻害することで、出血リスクを低減しつつ脳卒中を予防する可能性を秘めています。非頻繁な皮下投与が可能であるため、患者の利便性向上も期待されます。

詳細

主要成果

中国のバイオ医薬品企業Ribo Life Scienceが開発したsiRNA治療薬vortosiran（BD4059）が、心房細動患者の脳卒中予防（SPAF）を目的とした臨床試験について欧州医薬品庁（EMA）の承認を取得しました。この承認は、vortosiranの臨床開発が欧州市場で次の段階に進むための重要なマイルストーンとなります。

技術・臨床詳細

vortosiranは、siRNA（small interfering RNA）技術とGalNAc（N-アセチルガラクトサミン）複合体を組み合わせた薬剤です。GalNAc結合により、薬剤は肝臓に特異的に送達され、同社のRiboGalSTAR肝臓ターゲティング技術を活用しています。vortosiranの主要な作用機序は、血液凝固カスケードにおいて重要な役割を果たすFactor XI（FXI）の産生を遺伝子レベルで抑制することです。FXIの阻害は、血栓形成を効果的に抑制しつつ、既存の抗凝固薬と比較して出血リスクを低減する可能性が示唆されています。心房細動患者における脳卒中予防は、出血リスクとのバランスが常に課題となるため、vortosiranのような安全性の高い抗凝固戦略は大きな臨床的価値を持ちます。また、この薬剤は非頻繁な皮下投与が可能であり、患者の利便性を大幅に向上させ、長期的なアドヒアランスの改善に貢献することが期待されます。

背景・業界文脈

心房細動は、不整脈の一種で、脳卒中の主要なリスク因子の一つです。心房細動による脳卒中は重篤で、多くの場合、永続的な障害を引き起こします。現在の脳卒中予防の標準治療は抗凝固薬ですが、これらの薬剤は出血のリスクを伴うため、特に高齢者や併存疾患を持つ患者では慎重な管理が必要です。Factor XIを標的とする抗凝固薬は、出血リスクを最小限に抑えながら血栓形成を阻害できる可能性から、次世代の抗凝固療法として注目を集めています。Ribo Life ScienceのvortosiranのEMA承認は、中国発の革新的なsiRNA技術が国際的な規制当局によって評価され、グローバル市場での競争力を高めていることを示します。これは、siRNA技術が幅広い疾患領域においてアンメットメディカルニーズに応える可能性を改めて強調するものです。

今後の展望

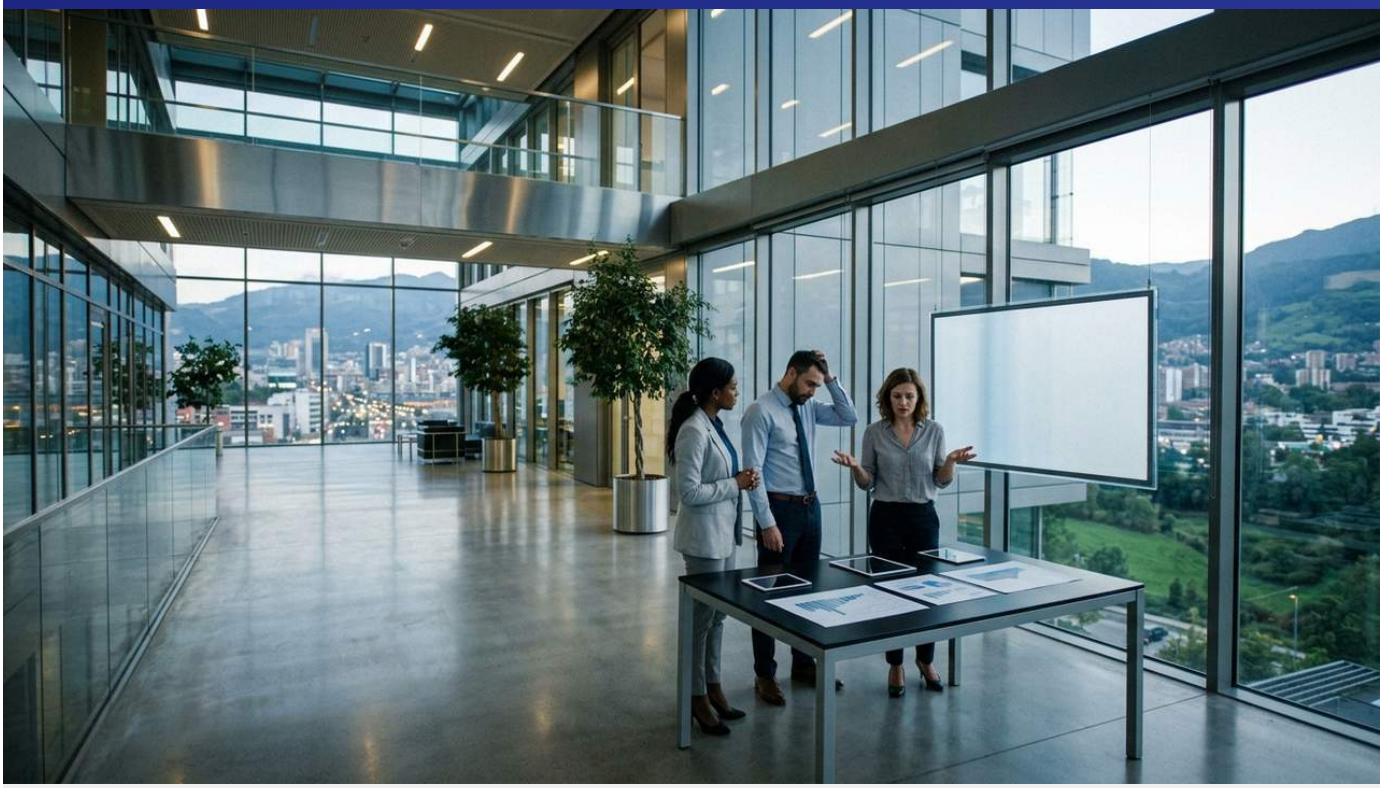
vortosiranのEMA承認は、欧州における心房細動患者の脳卒中予防に対する新たな治療アプローチ開発の扉を開きます。非頻繁な皮下投与という特性は、患者の治療負担を軽減し、アドヒアランス向上に大きく貢献するでしょう。今後の臨床試験でその有効性と安全性が確立されれば、vortosiranは従来の抗凝固薬に代わる、あるいは補完する重要な治療選択肢となる可能性があります。Ribo Life Scienceにとっては、グローバル市場での存在感を高め、siRNA技術のさらなる応用と開発を加速させるきっかけとなるでしょう。Factor XI阻害剤としての成功は、出血リスクの少ない抗凝固療法のパラダイムシフトを促進し、心血管疾患の治療に大きな影響を与えることが期待されます。

元記事: https://flcube.com/ribo-life-sciences-sirna-therapy-vortosiran-receives-ema-approval-for-stroke-prevention-trial-in-atrial-fibrillation-patients/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#22 NovartisのDM1治療薬delpacibart etedesiran、第III相HARBOR試験で主要評価項目達成せず

公開日 2026年09月08日　Novartis　スイス



概要

Novartisは、筋強直性ジストロフィーI型（DM1）治療薬delpacibart etedesiran（del-desiran）の第III相HARBOR試験において、主要評価項目であるビデオ手開口時間（vHOT）の統計的に有意な改善を達成できなかったと発表しました。この抗体-オリゴヌクレオチド複合体（AOC）薬は、siRNA技術を用いてDM1の原因遺伝子DMPKの発現を減少させるように設計されていましたが、プラセボと比較して有意な改善を示しませんでした。この結果は、DM1治療薬開発における大きな挫折となります。

詳細

主要成果

Novartisは、筋強直性ジストロフィーI型（DM1）を対象とした抗体-オリゴヌクレオチド複合体（AOC）薬delpacibart etedesiran（del-desiran）の第III相HARBOR試験において、主要評価項目であるビデオ手開口時間（vHOT）の統計的に有意な改善を達成できなかったと発表しました。この結果は、DM1治療薬の新たな開発において重要な後退を意味します。

技術・臨床詳細

delpacibart etedesiranは、siRNA（small interfering RNA）技術と抗体を組み合わせたAOC薬として設計され、DM1の根本原因であるDMPK遺伝子（筋強直性ジストロフィープロテインキナーゼ遺伝子）の異常なmRNA発現を減少させることを目指していました。DMPK遺伝子のリピート伸長は、細胞内に蓄積する毒性RNAを生み出し、これにより様々なタンパク質の機能が阻害され、DM1の多臓器症状を引き起こします。HARBOR試験は、DM1患者の運動機能改善、特に手の開閉能力（vHOT）の評価を主要評価項目として設計されていました。しかし、Novartisの発表によると、del-desiranはプラセボ群と比較してvHOTの統計的に有意な改善を示すことができませんでした。この結果は、DM1の複雑な病態生理に対するsiRNAアプローチの有効性とデリバリーメカニズムに関するさらなる研究の必要性を示唆しています。

背景・業界文脈

筋強直性ジストロフィーI型（DM1）は、成人で最も一般的な筋ジストロフィーであり、進行性の筋力低下、ミオトニア（筋肉の弛緩遅延）、多臓器症状を特徴とする重篤な遺伝性疾患です。現在、DM1に対する承認された疾患修飾治療薬は存在せず、アンメットメディカルニーズが非常に高い領域です。siRNAやASO（アンチセンスオリゴヌクレオチド）といったRNAベースの治療薬は、遺伝子レベルで疾患の原因に介入できることから、DM1の治療法として大きな期待を集めていました。Novartisによる今回の第III相試験の失敗は、稀少疾患に対するRNAベース治療薬開発の複雑さと困難さを浮き彫りにするものです。

今後の展望

delpacibart etedesiranの第III相試験の失敗は、Novartisにとって、またDM1コミュニティ全体にとって失望的な結果となりました。この結果は、DM1の病態メカニズムの理解をさらに深め、より効果的な標的およびデリバリー方法を特定するための研究の必要性を強調しています。Novartisは、この試験結果の全データを評価し、今後の戦略を決定する予定です。DM1治療薬開発における他の企業や研究グループは、今回の教訓から学び、異なるアプローチや改良されたRNA治療薬、あるいは他のモダリティの探索を加速させることになるでしょう。アンメットメディカルニーズの高いDM1患者のためには、依然としてブレークスルーが求められています。

元記事: https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-provides-update-delpacibart-etedesiran-del-desiran-phase-iii-harbor-study-treatment-myotonic-dystrophy-type-1-dm1

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#23 insitro、Hideo Makimura氏を最高医学責任者に任命しAI創薬から臨床開発段階への移行を加速

公開日 2026年09月08日　BioSpace　アメリカ



概要

AI創薬のパイオニアであるinsitroは、Hideo Makimura氏を最高医学責任者（CMO）に任命し、AI創薬企業から臨床段階企業への戦略的移行を加速することを発表しました。Makimura氏は、以前J&JでMASH（代謝機能不全関連脂肪性肝炎）におけるPNPLA3を標的としたGalNAc-siRNAの初期臨床開発を成功裏に主導し、第1相試験を完了させた実績があります。この人事は、insitroがデータ主導型AI創薬から、実際の患者への恩恵をもたらす臨床開発へと軸足を移す決意を示しています。

詳細

主要成果

AI駆動型創薬のリーダーであるinsitroは、Hideo Makimura氏を最高医学責任者（CMO）に任命し、同社がAI創薬企業から臨床段階企業へと移行する重要な局面を主導することを発表しました。この人事は、insitroのパイプラインが研究段階から、実際に患者に届けられる治療薬へと具体的な進展を遂げることへの強いコミットメントを示しています。

技術・臨床詳細

insitroは、機械学習とヒト疾患に関する大規模なデータセットを統合し、新規の薬剤標的を発見し、疾患のメカニズムを解明することで、創薬プロセスを加速させることに特化してきました。Hideo Makimura氏のCMO就任は、同社がこれまでに特定してきた有望な候補薬を効率的かつ戦略的に臨床試験に進めるための専門知識を組織にもたらします。Makimura氏は、J&J（ジョンソン・エンド・ジョンソン）において、MASH（代謝機能不全関連脂肪性肝炎）を対象としたPNPLA3（パタチン様ホスホリパーゼドメイン含有3）を標的とするGalNAc-siRNA（small interfering RNA）の初期臨床開発を主導し、第1相臨床試験を成功裏に完了させた豊富な経験を持っています。PNPLA3は、肝臓の脂肪蓄積と線維化に深く関与する遺伝子であり、MASH治療の重要な標的として注目されています。彼の経験は、特にRNAベースの治療薬や肝臓疾患領域における臨床開発戦略において、insitroに不可欠な知見をもたらすでしょう。

背景・業界文脈

AI創薬業界は、近年急速な成長を遂げていますが、多くのAI企業はまだ創薬の初期段階、すなわち標的同定やリード化合物最適化に留まっています。実際にAIが発見した薬剤を臨床試験に進め、最終的に承認まで導くことは、AI創薬の真の価値を証明するために不可欠なステップです。insitroは、そのデータ主導型のアプローチでこの課題に取り組んでおり、Makimura氏のような経験豊富な臨床開発リーダーを招聘することは、同社がこの困難な移行を成功させるための戦略的な動きです。このトレンドは、AI創薬が学術研究の域を超え、実用的な医療ソリューションを提供する産業へと成熟しつつあることを示唆しています。

今後の展望

Hideo Makimura氏のCMO任命は、insitroが臨床段階企業としての地位を確立する上で極めて重要な意味を持ちます。彼のMASHおよびRNA治療薬に関する深い知見は、同社のパイプライン、特に肝疾患やその他のアンメットメディカルニーズが高い領域における候補薬の臨床開発を加速させるでしょう。今後、insitroのAIプラットフォームから生まれた薬剤が臨床試験で肯定的な結果を示すことができれば、これはAI創薬モデル全体の成功を強力に後押しし、製薬業界におけるAI技術のさらなる普及と投資を促進することになります。insitroの成功は、創薬プロセス全体におけるAIの役割を再定義し、より迅速かつ効率的な新薬開発の未来を切り開く可能性を秘めています。

元記事: https://www.biospace.com/press-releases/insitro-appoints-hideo-makimura-as-chief-medical-officer-to-lead-its-transition-to-a-clinical-stage-company

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#24 RecornaとStarna Therapeutics、STAR LNP技術を活用し肺疾患向けRNA遺伝子編集薬開発で戦略的提携

公開日 2026年09月09日　Insight, China's Pharmaceutical Industry　中国



概要

中国のRecorna BiotechnologyとStarna Therapeuticsが、肺疾患に対するRNA遺伝子編集薬の開発で戦略的提携を締結しました。この提携は、Starna独自のSTAR LNP送達技術を活用し、RecornaのMINIC RNAベース遺伝子編集薬を肺に正確に送達することを目的としています。共同で前臨床候補分子のスクリーニングから臨床開発への推進に注力し、難治性肺疾患の治療に革新をもたらすことを目指します。

詳細

主要成果

中国のバイオテクノロジー企業Recorna BiotechnologyとStarna Therapeuticsは、肺疾患に対するRNA遺伝子編集薬の開発を加速させるための戦略的提携を発表しました。このコラボレーションは、Starna独自のSTAR LNP（脂質ナノ粒子）送達技術を活用して、RecornaのMINIC RNAベース遺伝子編集薬を肺組織に高精度に送達することに焦点を当てています。

技術・臨床詳細

この提携の中心は、二社の補完的な技術の統合にあります。Recorna Biotechnologyは、MINIC RNAと総称されるRNAベースの遺伝子編集薬に関する専門知識とパイプラインを提供します。MINIC RNA技術は、特定の遺伝子の発現を調節または修正することで、疾患の根本原因にアプローチする可能性を秘めています。一方、Starna Therapeuticsは、特許取得済みのSTAR LNP送達技術を提供します。LNPはRNAベースの治療薬を細胞内に効率的かつ安全に送達するために不可欠な技術であり、STAR LNPはその安定性とターゲティング能力が強化されていると考えられます。特に、肺疾患治療においては、全身性副作用を最小限に抑えつつ、肺組織に選択的に薬剤を届けることが重要な課題となります。両社は、共同で前臨床候補分子のスクリーニング、最適化、および規制申請に向けた準備を進め、最終的に臨床開発へと推進することを目指しています。このアプローチにより、炎症性肺疾患や遺伝性肺疾患など、これまでの治療法では効果が限定的であった肺疾患に対する画期的な治療薬の創出が期待されます。

背景・業界文脈

肺疾患は、その多様性と複雑性から、依然として多くのアンメットメディカルニーズが存在する分野です。特に、遺伝的要因や慢性炎症が関与する疾患では、症状を緩和する対症療法が主であり、根本的な治療法は不足しています。RNA遺伝子編集技術は、従来の遺伝子治療と比較して安全性や可逆性の面で優位性を持つ可能性があり、精密医療の次なるフロンティアとして注目されています。LNPによるRNA送達技術は、mRNAワクチンでその有効性が実証されて以来、様々なRNAベース治療薬の基盤技術として広く採用されています。RecornaとStarnaの提携は、中国のバイオ医薬品業界が、国際的な競争力を持ち、革新的なモダリティを開発する能力を向上させていることを示唆しています。これは、特定の臓器への高効率な遺伝子送達が、RNA治療薬の成功においていかに重要であるかを強調するものです。

今後の展望

RecornaとStarna Therapeuticsの戦略的提携は、肺疾患におけるRNA遺伝子編集薬の開発に大きな進歩をもたらす可能性があります。STAR LNP技術による肺への高精度なMINIC RNA送達は、治療効果の最大化と副作用の最小化を実現する鍵となるでしょう。今後、共同研究から有望な前臨床候補が特定され、臨床開発へとスムーズに移行できれば、これは肺疾患治療の新たな標準を確立する可能性を秘めています。この提携は、中国のバイオテクノロジー企業の国際的な影響力を高めるだけでなく、RNAベースの遺伝子編集技術が、特定の臓器に特化した治療法を提供することで、いかに多くの患者の生活を改善しうるかを示す重要な事例となるでしょう。

元記事: https://flcube.com/recorna-and-starna-therapeutics-join-forces-to-advance-rna-gene-editing-in-lung-diseases/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#25 製薬AIにおけるデータ問題：複雑な臨床試験データがAIモデル構築を阻害

公開日 2026年09月10日　ACI Infotech　アメリカ



概要

製薬企業はAIに多額の投資を行っているにもかかわらず、臨床試験データの構造的な複雑性と一貫性の欠如が、AIモデルの有効な展開を阻害する「臨床試験データ問題」を引き起こしています。これは、AIが期待通りの成果を出せない主な理由であり、製薬AIには専門的なデータインフラと管理戦略が不可欠であることを浮き彫りにしています。この問題の解決は、AI創薬の商業的成功のために極めて重要です。

詳細

主要成果

製薬業界におけるAIへの多額の投資にもかかわらず、臨床試験データの構造的な複雑性と一貫性のなさが、AIモデルの大規模な展開と期待される成果の達成を阻害する主要な障壁となっています。この「臨床試験データ問題」は、製薬AIがその真の可能性を発揮するために、専門的なデータインフラと戦略的なアプローチが必要であることを示しています。

技術・臨床詳細

AIモデル、特に機械学習アルゴリズムは、高品質で一貫性のある大量のデータから学習することで最大の効果を発揮します。しかし、臨床試験データは、その性質上、非常に複雑で異種混合的です。例えば、様々なソース（電子カルテ、ウェアラブルデバイス、ラボデータ、画像診断など）から収集されるため、フォーマット、用語、収集プロトコルが標準化されていません。さらに、患者の多様性、疾患の不均一性、治療法の違い、そして試験デザインの複雑さが、データの一貫性をさらに損ないます。このような「ダーティ」なデータは、AIモデルのトレーニングに悪影響を与え、予測精度を低下させ、誤った結論を導く可能性があります。結果として、AIは創薬の加速や臨床試験の効率化といった期待に応えられず、その導入効果が限定的になってしまいます。この問題に対処するには、データの統合、標準化、クレンジング、そして専門的なキュレーションを行うための堅牢なデータインフラと、臨床データサイエンティストのような専門家チームの存在が不可欠です。

背景・業界文脈

製薬業界は、新薬開発の長期化、高コスト化、低成功率という課題に直面しており、AIはこれらの問題を解決する希望の光として登場しました。初期の研究では、AIが標的同定、リード最適化、分子設計において有望な結果を示し、多大な投資が引き出されました。しかし、AIモデルが臨床開発フェーズ、特に実際の臨床試験データを用いて実用的な意思決定を支援しようとすると、既存のデータ環境がボトルネックとなることが明らかになってきました。この「臨床試験データ問題」は、AI技術自体の限界ではなく、データ管理とデータガバナンスの課題であり、業界全体で取り組むべき構造的な問題として認識され始めています。この問題が解決されない限り、AIは創薬プロセスの一部でしかその価値を発揮できず、エンドツーエンドの効率化は実現しないでしょう。

今後の展望

製薬AIの未来は、この臨床試験データ問題をいかに克服できるかにかかっています。今後、製薬企業はAI技術への投資と並行して、データインフラの現代化、データ標準化の推進、およびデータサイエンスの専門家育成に重点を置く必要があります。これには、業界標準プロトコルの策定、データ共有フレームワークの確立、そしてAIに最適化されたデータレイクやウェアハウスの構築が含まれます。データ品質の向上とアクセシビリティの確保により、AIモデルはより正確な予測と洞察を提供できるようになり、創薬プロセス全体を真に加速させることができます。この課題を乗り越えることができれば、製薬AIは単なる補助ツールではなく、新薬開発の意思決定を根本から変革する核となるテクノロジーとして確立されるでしょう。この問題への効果的な対応は、AI創薬の商業的成功と、患者に革新的な治療法をより迅速に届けるための鍵となります。

元記事: https://aciinfotech.com/blogs/pharma-ai-data-problem-why-clinical-trial-data-kills-your-models

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#26 ModernaのRSVワクチンmRESVIA®がFDA承認、mRNA治療薬の非ワクチン用途も開発進行中

公開日 2026年09月08日　Facebook (Vaxcyte, Vivaldi Biosciences)　アメリカ



概要

ModernaのRSVワクチンmRESVIA®がFDAから画期的治療薬指定を受けて承認され、mRNA技術が感染症予防においてその力を再確認しました。同時に、mRNA治療薬は、心不全や遺伝性疾患など、ワクチン以外の広範な治療用途で活発に開発が進められており、現在前臨床または初期臨床段階にあります。COVID-19ワクチン（mRNA-1273）の小児向け緊急使用許可申請や鼻腔スプレー型mRNAワクチンの研究も進む一方で、脂質ナノ粒子による全身性抗原産生やDNA汚染のリスクも課題として指摘されています。

詳細

主要成果

ModernaのRSVワクチンmRESVIA®が米国FDA（食品医薬品局）から画期的治療薬指定を受け、その後承認されたことで、mRNA技術の感染症予防における有効性が改めて確立されました。この成功と並行して、mRNA治療薬は、心不全、遺伝性疾患、がん治療など、ワクチン以外の広範な治療用途においても、前臨床および初期臨床開発段階で活発に研究・開発が進められています。

技術・臨床詳細

mRNA（メッセンジャーRNA）治療薬は、体内の細胞に特定のタンパク質を一時的に産生させることで、治療効果を発揮するモダリティです。ModernaのRSVワクチンmRESVIA®の承認は、mRNA技術が安全かつ効果的に免疫応答を誘導できることを実証し、高齢者におけるRSV感染症による重篤な疾患予防に貢献します。この技術の非ワクチン用途では、以下の点が注目されています。

- **心不全:** 心臓の修復や再生を促すタンパク質を産生させることで、心機能の改善を目指す研究が進行中です。
- **遺伝性疾患:** 欠損している、または機能不全のタンパク質を補うためのmRNAを送達し、疾患の根本原因にアプローチする試みがなされています。例えば、嚢胞性線維症や特定の代謝性疾患が対象です。
- **がん免疫療法:** がん細胞特異的な抗原を提示するmRNAを投与し、患者自身の免疫システムを活性化してがんを攻撃させるアプローチが開発されています。

Modernaはまた、生後6ヶ月から6歳未満の小児向けCOVID-19 mRNAワクチン（mRNA-1273）の緊急使用許可（EUA）を申請しており、さらに鼻腔スプレー型mRNAワクチンの研究も進め、投与経路の多様化を図っています。しかし、mRNA治療薬の開発には、脂質ナノ粒子（LNP）による全身性抗原産生のリスクや、製造プロセスにおけるDNA汚染の可能性といった課題も指摘されており、これらの安全性と品質管理が今後の重要な論点となります。

背景・業界文脈

COVID-19パンデミックを通じてmRNAワクチンが急速に開発・承認されたことは、mRNA技術の大きな転換点となりました。これにより、mRNAの迅速な開発能力、高い有効性、そして比較的良好な安全性プロファイルが世界的に認識されました。この成功は、製薬業界がmRNA技術の応用範囲をワクチン以外へと大幅に拡大するきっかけとなり、心血管疾患、遺伝性疾患、がんなど、これまで治療が困難だった多くの疾患に対する革新的な治療法として大きな期待が寄せられています。大手製薬企業やバイオテック企業がこぞってmRNA非ワクチン用途の研究開発に投資しており、この分野はバイオ医薬品市場における最も急速に成長しているセグメントの一つとなっています。

今後の展望

ModernaのRSVワクチン承認は、mRNA技術が成熟し、多様な治療分野で臨床応用される可能性を強く示唆しています。mRNA治療薬の非ワクチン用途における今後の進展は、難治性疾患の患者に新たな希望をもたらすでしょう。特に、遺伝性疾患や心不全など、これまでの治療法では限界があった領域での成果が期待されます。ただし、技術的な課題、特に大規模製造における品質管理、送達システムの最適化、そして長期的な安全性データの蓄積が成功の鍵となります。これらの課題を克服することで、mRNA治療薬は21世紀の医療を根本から変革する核となるモダリティとしての地位を確立する可能性があります。世界中の研究者と投資家は、このダイナミックな分野の動向を注視し続けるでしょう。

元記事: https://www.facebook.com/biospacecommunity/posts/after-mastering-mass-market-mrna-production-during-the-pandemic-the-industry-now/1811889013574985/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#27 Catalent、41億ドル資金調達でバイオ医薬品・経口薬製造能力を拡大、GLP-1需要に対応

公開日 2026年09月10日　Pharmaceutical Technology　アメリカ



概要

Catalentは、41億ドルの債務借り換えを完了し、その資金をバイオ医薬品および経口薬製造能力の拡大に充てることを発表した。この戦略的投資は、Zydis ODT（口腔内崩壊錠）プラットフォームや大規模バイオリアクター容量の増強を含み、特にGLP-1などのペプチドベース治療薬を含む先進的なドラッグデリバリー技術における顧客の強い需要に応えるものである。同社はまた、品質管理システムを支援するAIツール「Qai」を最近立ち上げ、技術革新も推進している。この動きは、契約製造市場の堅調な需要と、国内回帰（オンショアリング）の傾向を反映している。

詳細

主要成果

大手医薬品受託製造開発機関（CDMO）であるCatalentは、41億ドル規模の債務借り換えを成功させ、その資金をバイオ医薬品および経口薬の製造能力拡張に投入することを決定しました。この巨額投資は、市場で爆発的に需要が拡大しているGLP-1受容体作動薬などのペプチドベース治療薬を含む、先進的なドラッグデリバリー技術への対応を強化するものであり、同社の成長戦略の要となっています。

技術・臨床詳細

Catalentの製造能力拡張計画には、主に2つの柱があります。一つは、同社の代表的な経口薬デリバリープラットフォームであるZydis ODT技術の強化です。Zydis ODTは、水なしで口腔内で速やかに溶解する剤形であり、嚥下困難な患者や利便性を求める患者にとって重要な選択肢を提供します。二つ目は、バイオ医薬品の生産に不可欠な大規模バイオリアクター容量の増強です。これにより、モノクローナル抗体やその他の複雑なタンパク質製剤の増産が可能となり、グローバルな供給体制を安定させることが期待されます。同社はまた、品質管理システム（QMS）プロセスを支援するAIツール「Qai」を導入するなど、デジタル技術を活用して製造効率と品質の向上を図っています。

背景・業界文脈

近年、バイオ医薬品市場は遺伝子治療や細胞治療といった新しいモダリティの登場により急速に拡大しており、特にGLP-1関連薬は肥満症や2型糖尿病治療薬として前例のない需要を創出しています。このような背景から、多くの製薬企業が自社で対応しきれない製造ニーズを外部のCDMOに委託しており、契約製造市場は堅調な成長を続けています。さらに、米国の通商政策や医薬品サプライチェーンの国内回帰（オンショアリング）の動きも、Catalentのような大手CDMOへの投資を加速させる要因となっています。今回の借り換えと投資は、Catalentがこれらの市場トレンドを捉え、長期的な成長基盤を確立するための戦略的な一手と言えます。

今後の展望

Catalentの今回の投資は、同社がバイオ医薬品と先進的なドラッグデリバリー技術のリーダーとしての地位をさらに盤石にするための重要なステップです。GLP-1市場の継続的な拡大や、新たなバイオ医薬品のパイプラインの充実を背景に、同社の製造能力と技術革新は、製薬業界全体のサプライチェーンの安定化と新薬の迅速な患者提供に貢献するでしょう。また、AIツールの導入は、今後のスマートファクトリー化や品質保証プロセスの効率化に向けた先駆的な取り組みとしても注目されます。

元記事: https://www.pharmamanufacturing.com/sector/contract-manufacturing/article/55404052/catalent-invests-in-biologics-oral-drug-manufacturing-following-refinancing

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#28 Ionis社、アレキサンダー病初の疾患修飾ASO療法「Zanvastro」がFDA承認を獲得

公開日 2026年09月03日　Fierce Pharma　アメリカ



概要

Ionis Pharmaceuticalsは、アンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）療法Zanvastro（一般名：zilganersen）が、希少神経変性疾患であるアレキサンダー病の初の疾患修飾療法として米国FDAの承認を獲得したと発表した。ZanvastroはGFAP（glial fibrillary acidic protein）タンパク質の産生を特異的に減少させることで病態の進行を抑制し、主要な第3相臨床試験において主要評価項目を達成した。この承認は、Ionisにとって独立した神経疾患治療薬として初の市場投入であり、同社の希少神経変性疾患パイプラインの強力な柱となる。

詳細

主要成果

Ionis Pharmaceuticalsは、開発中のアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）療法Zanvastro（zilganersen）が、アレキサンダー病に対する初の疾患修飾療法として米国食品医薬品局（FDA）の承認を取得したと発表しました。この画期的な承認は、希少で重篤な神経変性疾患の患者に、これまで存在しなかった標的治療選択肢を提供することを意味します。Zanvastroは、疾患の原因となるGFAPタンパク質の過剰産生を抑制することで、病態の進行を遅らせることを目的としています。

技術・臨床詳細

Zanvastroは、GFAP遺伝子を標的とするASOであり、GFAPタンパク質のmRNAレベルを低下させることで、その発現を抑制します。アレキサンダー病は、GFAP遺伝子の変異によって脳内のアストロサイトにGFAPが異常に蓄積し、神経障害を引き起こす疾患です。Zanvastroは、脳脊髄液中への直接注射（髄腔内投与）によって12週間ごとに投与されます。 pivotalな第3相臨床試験では、主要評価項目として設定された運動機能や神経学的症状の改善が確認され、特に小児および成人患者における歩行速度や運動能力の有意な改善が報告されました。安全性プロファイルも良好であり、胃腸障害などの一般的なASO関連の副作用は管理可能であったとされています。FDA諮問委員会では、満場一致で承認が推奨されるなど、その臨床的有用性が高く評価されています。

背景・業界文脈

アレキサンダー病は、有効な疾患修飾療法が存在しないアンメットメディカルニーズが高い疾患であり、これまでは対症療法が主でした。Zanvastroの承認は、ASO技術が希少神経疾患の治療において確立されたモダリティとしての地位を確固たるものにする重要な節目となります。Ionis Pharmaceuticalsは、ASO技術のパイオニアであり、今回の承認は、同社が神経疾患分野で独立して薬剤を開発・上市する能力を証明するものです。この成功は、他の希少神経変性疾患、例えば筋萎縮性側索硬化症（ALS）やハンチントン病などにおけるASO療法の開発にも拍車をかける可能性があります。

今後の展望

Zanvastroの市場投入により、アレキサンダー病患者は病態の根本原因にアプローチする初の治療法を利用できるようになります。Ionis Pharmaceuticalsは、Zanvastroのさらなる臨床的エビデンスの蓄積と、希少神経変性疾患領域における次世代ASO療法の開発に注力する方針です。この承認は、同社が将来的に神経疾患フランチャイズを拡大し、より多くの患者に画期的な治療法を提供するための強固な基盤を築くものとなるでしょう。グローバル展開についても検討が進められると予想され、世界中の患者にとって希望となる可能性を秘めています。

元記事: https://www.fiercepharma.com/pharma/ionis-breakthrough-alexander-disease-approval-establishes-pillar-rare-disease-pipeline

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#29 Waterfall Scientific、ARPA-Hから5450万ドル獲得：mRNA連続製造プラットフォーム開発を主導

公開日 2026年09月03日　Pulse 2.0　アメリカ



概要

Waterfall Scientificは、ARPA-H（Advanced Research Projects Agency for Health）から最大5,450万ドルという巨額の資金を獲得し、mRNA製造および特性評価のための革新的な連続フロープラットフォームの開発を主導する。この「ESCALATOR」プロジェクトは、現在主流のバッチベース製造が抱える非効率性や拡張性の課題を解決することを目指している。主要なパートナー企業との共同開発により、DNA合成からRNA転写、精製、製剤化、充填、最終仕上げまでの一貫したマイクロ流体ベースの製造プロセスを統合する計画だ。この取り組みは、将来のパンデミック対応や迅速な医薬品供給体制の構築に貢献すると期待される。

詳細

主要成果

Waterfall Scientific社は、米国保健高等研究計画局（ARPA-H）から最大5,450万ドルの資金提供を受け、mRNA製造および特性評価のための連続フロープラットフォーム開発プロジェクト「ESCALATOR」を主導することが決定しました。この画期的な取り組みは、従来のバッチベース製造方式が抱える非効率性と拡張性の課題を克服し、mRNA医薬品の生産に革命をもたらすことを目指しています。

技術・臨床詳細

ESCALATORプロジェクトは、mRNA製造の全工程を連続フローシステムに統合することを特徴としています。具体的には、マイクロ流体技術を応用したDNA合成、RNA転写、高効率な精製、脂質ナノ粒子（LNP）への製剤化、そして最終的な充填および最終仕上げ（Fill-Finish）までの一連のプロセスをシームレスに連結します。この統合により、各工程間の移行時間が短縮され、製造のスループットが向上するとともに、製品の品質の一貫性が保たれます。従来のバッチ製造と比較して、連続フローシステムは生産規模の柔軟性が高く、緊急時の迅速な増産対応能力が飛躍的に向上することが期待されます。プロジェクトには、Ansa Biotechnologies、Volta Labs、Polymorphic Biosciences、Tensentric、そしてGinkgo Bioworksといった各分野の専門企業がコンソーシアムとして参加し、それぞれの技術的強みを結集してプラットフォーム開発を推進します。

背景・業界文脈

mRNA技術は、COVID-19パンデミックにおいてワクチンの迅速な開発と供給に不可欠な役割を果たし、その治療的ポテンシャルが広く認識されました。しかし、従来のmRNA製造は、時間とコストがかかるバッチ処理に依存しており、特に大規模な需要変動や新興感染症への迅速な対応には限界がありました。ARPA-Hの設立目的の一つは、このような国家的な健康課題に対する画期的なソリューションを支援することにあり、ESCALATORプロジェクトはそのミッションに合致するものです。連続フロー製造技術は、製薬業界において長らく追求されてきた目標であり、mRNAのような複雑な生物学的製質を持つ分子の製造に適用されることは、医薬品製造の新たな「パラダイムシフト」を象徴しています。

今後の展望

ESCALATORプロジェクトの成功は、mRNA医薬品の製造コストを削減し、アクセス性を向上させるだけでなく、将来的なパンデミックに対するグローバルな準備体制を強化する上で極めて重要な意味を持ちます。連続フロー製造プラットフォームが確立されれば、新たなmRNAベースのワクチンや治療薬（がん免疫療法、希少疾患治療薬など）の開発・生産が加速し、より迅速かつ効率的に患者に届けられるようになります。この技術は、製薬サプライチェーンの強靭化にも貢献し、国家安全保障の観点からも大きな戦略的価値を持つことになります。 Waterfall Scientificとコンソーシアムの取り組みは、mRNA製造の未来を形作る重要な一歩となるでしょう。

元記事: https://pulse2.com/waterfall-scientific-awarded-up-to-54-5-million-from-arpa-h-for-mrna-manufacturing-platform/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#30 米通商政策とBIOSECURE法がADC製造を再編：ロンザ・サムスンバイオロジクスが増強

公開日 2026年09月11日　Bioprocess Online　アメリカ



概要

米国の通商政策とBIOSECURE法案が、抗体薬物複合体（ADC）の製造環境を根本的に再編し、米国、欧州、アジア全体での製造能力への大規模投資を促進している。この政策の背景には、中国のバイオテクノロジー企業への依存度を減らし、サプライチェーンの強靭性を高める狙いがある。LonzaやSamsung Biologicsといった主要CDMOは、毒性ペイロードリンカー製造や専用ADC施設の能力を積極的に拡張しており、医薬品スポンサーは新たな製造パートナーの選択肢を得ている。しかし、この動きは同時に、複雑なADCサプライチェーンの管理における新たな課題も生じさせている。

詳細

主要成果

米国の通商政策、特にBIOSECURE法案の導入が、抗体薬物複合体（ADC）の製造業界に大きな影響を与え、米国、欧州、アジア各地で大規模な製造能力増強投資を促進しています。この政策は、中国のバイオテクノロジー企業への依存を減らし、医薬品サプライチェーンのセキュリティと多様性を高めることを目的としており、ADCのような高成長モダリティの生産体制を世界的に再編する動きを加速させています。

技術・臨床詳細

ADCは、強力な細胞毒性を持つペイロードと、疾患特異的な抗体をリンカーで結合させた複合体であり、その製造には高度な専門技術と設備が求められます。特に、毒性ペイロードの合成、抗体へのリンカー結合、そして最終的な精製と充填工程は、極めて厳格な封じ込めと品質管理が必要です。LonzaやSamsung Biologicsといった主要な医薬品受託製造開発機関（CDMO）は、これらの複雑な製造ステップに対応するため、ペイロードリンカー製造能力の拡大と、専用のADC製造施設の建設・増強を進めています。例えば、高活性原薬（HPAPI）を安全に取り扱うためのアイソレーター技術や、精密なコンジュゲーション反応を制御するバイオプロセスの最適化に投資が行われています。これにより、ADC開発企業は、多様な地理的拠点と技術的専門性を持つCDMOから、より幅広い選択肢を得られるようになっています。

背景・業界文脈

ADC市場は、がん治療の主要な柱の一つとして急速に拡大しており、その有効性と標的特異性から、開発パイプラインが著しく増加しています。しかし、ADC製造の複雑性は、限られた数のCDMOに専門知識が集中しているというボトルネックを生み出していました。米国のBIOSECURE法案は、国家安全保障上の懸念から、中国のバイオテクノロジー企業、特に華大基因（BGI）などの大手企業からの技術やサービスの調達を制限する可能性を示唆しており、これがグローバルなサプライチェーンの再構築を促す大きな要因となっています。この法案は、製薬企業がサプライチェーンを「脱中国化」し、より信頼性の高いパートナーを探すインセンティブを与えています。

今後の展望

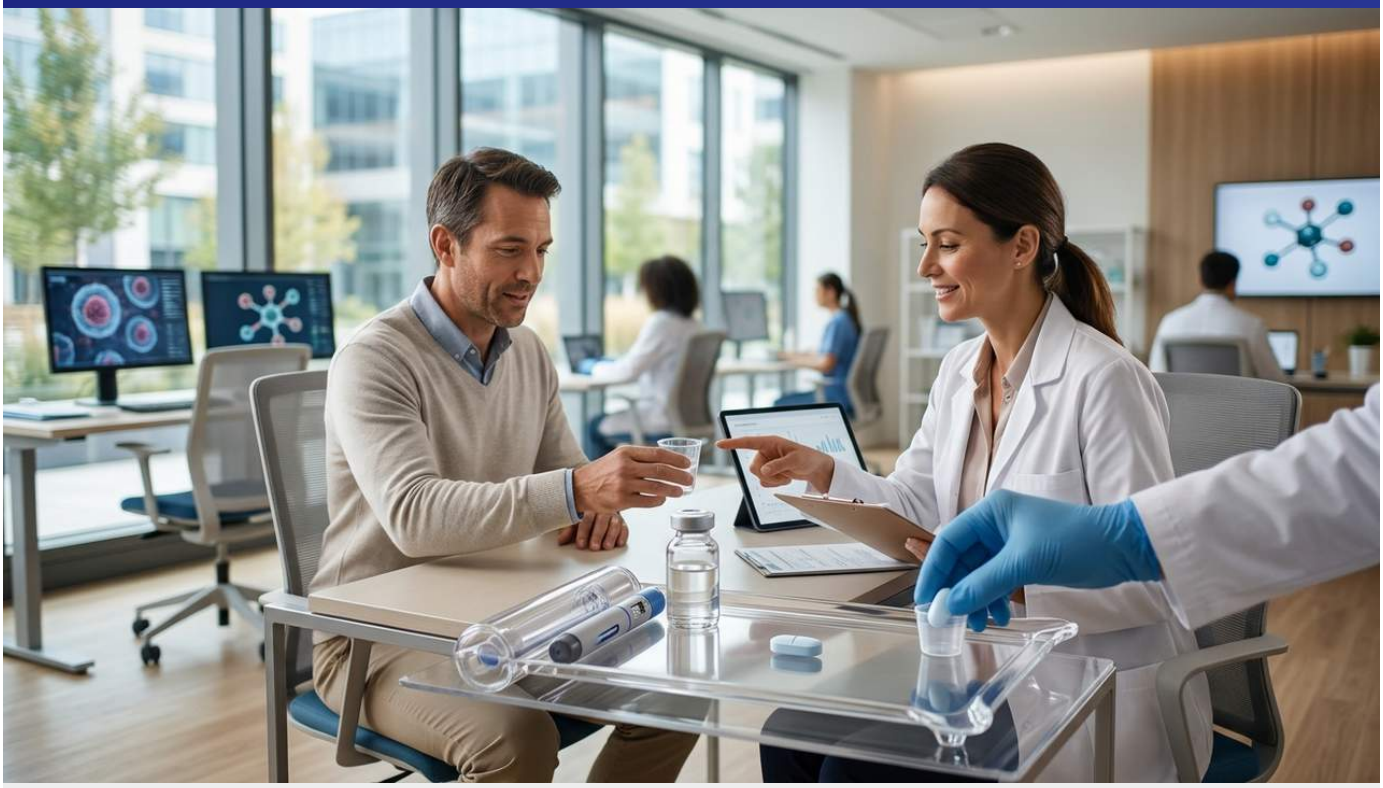
通商政策とBIOSECURE法案の影響により、ADC製造の地理的多様化と能力増強は今後も加速すると予想されます。これにより、ADC開発企業は、サプライチェーンのリスクを分散し、地政学的リスクに左右されない安定した製造体制を構築できるようになるでしょう。一方で、製造拠点の分散は、異なる地域の規制要件への対応、物流の複雑化、コスト管理といった新たな課題ももたらします。CDMO各社は、これらの課題に対応しながら、最先端のADC製造技術と包括的なサプライチェーンソリューションを提供することで、この変化する市場環境での競争優位性を確立しようとしています。これは、ADC治療薬の迅速な開発と、世界中の患者への安定供給に貢献する重要な動きとなるでしょう。

元記事: https://www.adcreview.com/business-economics/us-trade-policy-and-biosecure-reshape-the-adc-manufacturing-landscape/

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#31 Eli Lillyの経口GLP-1候補薬Orforglipron、第2相試験で注射剤に匹敵する減量効果と安全性を示す

公開日 2026年09月11日　Endocrinology Today　アメリカ



概要

Eli Lillyが開発中の経口GLP-1受容体アゴニストOrforglipronは、第2相臨床試験において、肥満および2型糖尿病患者で一部の注射型GLP-1受容体アゴニストに匹敵する体重減少効果を示した。本薬剤は非ペプチド性の低分子であるため、消化酵素による分解を受けずに経口投与が可能という画期的な特徴を持つ。一方で、胃腸障害が一般的な有害事象として報告されており、今後の大規模試験での安全性プロファイルの確認が重要となる。この経口剤の進展は、GLP-1市場における利便性を大きく向上させ、患者の治療選択肢を広げる可能性を秘めている。

詳細

主要成果

Eli Lillyが開発を進めている経口GLP-1受容体アゴニスト候補薬Orforglipronは、肥満症および2型糖尿病の治療薬として実施された第2相臨床試験において、一部の既存の注射型GLP-1受容体アゴニストに匹敵する体重減少効果を示す有望な結果を達成しました。この成果は、患者の利便性を大幅に向上させる可能性を秘めた、非注射型のGLP-1治療薬の実現に向けて重要な一歩となります。

技術・臨床詳細

Orforglipronは、非ペプチド性の低分子GLP-1受容体アゴニストです。この分子構造の特性により、消化管内の消化酵素による分解を受けることなく、経口投与で効果を発揮することが可能となっています。第2相臨床試験では、体重減少の主要評価項目において良好な結果が得られました。例えば、プラセボ群と比較して、Orforglipron投与群では統計学的に有意な体重減少が観察され、その効果の規模は一部の注射型GLP-1アゴニストのデータに匹敵するものでした。安全性プロファイルに関しては、他のGLP-1受容体作動薬と同様に、悪心、嘔吐、下痢などの胃腸関連の有害事象が比較的多く報告されましたが、これらは主に軽度から中等度であり、用量調整や漸増によって管理可能であると考えられています。

背景・業界文脈

GLP-1受容体アゴニストは、肥満症および2型糖尿病治療において非常に高い有効性を示す薬剤として、近年その市場が爆発的に拡大しています。しかし、ほとんどのGLP-1受容体アゴニストが注射剤であるため、患者の負担やアドヒアランス（服薬遵守）が課題となることがあります。経口GLP-1受容体アゴニストの開発は、これらの課題を克服し、より多くの患者に治療機会を提供するための重要なフロンティアとして注目されています。Orforglipronのような非ペプチド性低分子薬は、生産の容易さやコスト面でのメリットも期待され、市場に大きな影響を与える可能性があります。

今後の展望

Orforglipronの第2相試験の良好な結果は、同薬剤が肥満症および2型糖尿病治療における画期的な経口選択肢となる可能性を強く示唆しています。今後は、大規模な第3相臨床試験を通じて、その長期的な有効性、安全性、および忍容性が詳細に評価されることになります。もしOrforglipronが成功すれば、GLP-1市場における競争環境が大きく変化し、注射が苦手な患者層へのアクセスが拡大することで、治療普及に大きく貢献すると考えられます。これにより、Eli Lillyは、GLP-1市場におけるリーダーとしての地位をさらに強化する可能性があり、その動向が広く注目されています。

元記事: #

収集日: 2026年09月11日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)