

TROY TECHNICAL

創薬・DDS

ウィークリーレポート

2026年10月17日-10月23日 | Issue 2026-W42

標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算

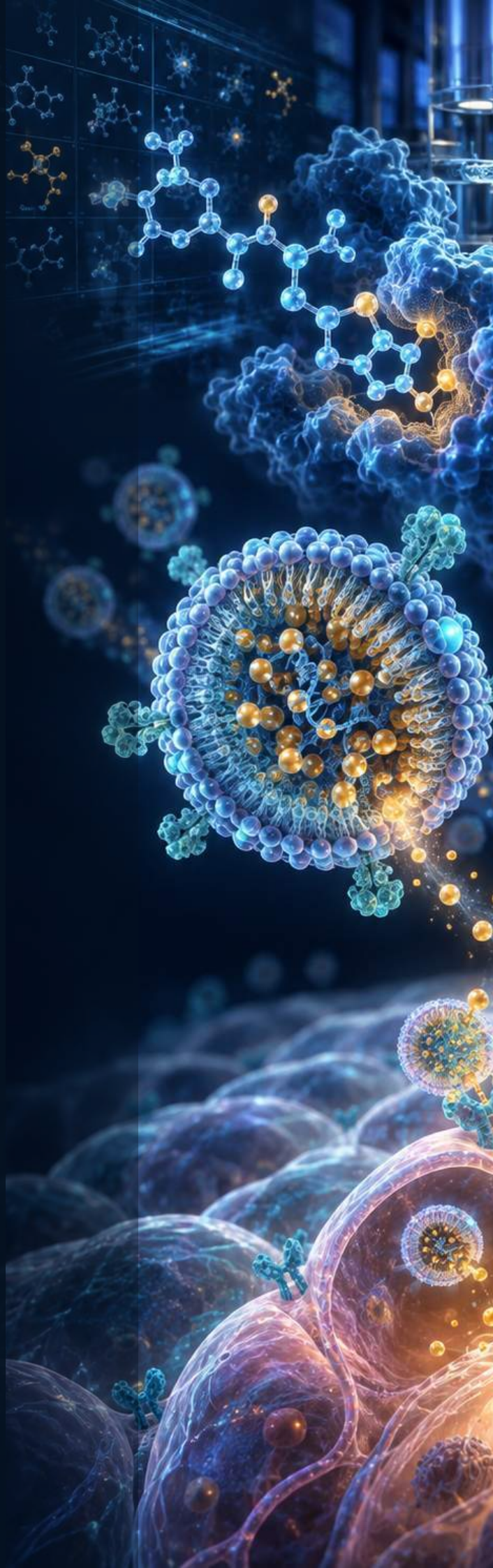
21

分析対象

10

重点テーマ

発行 2026-10-23 | 日本語版 | 承認済み固定表紙



創薬・DDS:個別発表から認定証拠へ境界が移動

日本語記事21件を棚卸しし、意思決定に重要なテーマを選定した。

シグナル 01 | 標的・分子

Bepirovirsen|GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響

FDAがGSK社の慢性B型肝炎(CHB)治療薬「Hibsgo(bepirovirsen)」を承認した。本剤はアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で、6ヶ月の投与コースにより19%の患者が機能的治癒を達成した。希少疾患中心だった同モダリティが数億人規模の慢性感染症市場へ拡大することで、オリゴヌクレオチドの商業規模での合成・精製能力が試されることになる。

シグナル 02 | 送達設計

IDE849|DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ

IDEAYA Biosciencesが、DLL3標的の抗体薬物複合体(ADC)であるIDE849(SHR-4849)の第1相試験における更新データを発表した。再発小細胞肺癌(SCLC)の2次治療において、中央値17.4ヶ月の全生存期間(OS)という有望な結果を示している。本剤はTOP1阻害剤をペイロードとして持ち、脳転移例や他の神経内分泌癌(NEC)に対しても高い抗腫瘍活性を確認した。これにより、未充足の医療ニーズが高いSCLCおよびNECにおける新たな治療選択肢となる可能性がある。

シグナル 03 | 前臨床

Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin|切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績

欧州委員会(EC)は、切除可能な筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)に対し、PembrolizumabとEnfortumab Vedotinの併用療法を術前および術後の補助療法として承認した。第3相試験KEYNOTE-B15において、本併用療法は化学療法と比較して2年イベントフリー生存率(EFS)を79.4%に向上させ、死亡リスクを35%低減した。これにより、シスプラチン投与の可否にかかわらず、化学療法を用いない周術期治療という新たな選択肢が提供される。

シグナル 04 | 臨床開発

[225 Ac]Ac-FL-020|mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果

Full-Life Technologies社が開発中のPSMA標的アルファ線放射性医薬品[225 Ac]Ac-FL-020について、転移性去勢抵抗性前立腺がん(mCRPC)患者を対象としたPhase 1試験の速報値が発表された。ルテチウム-177(Lu-177)未治療患者の100%がPSA50を達成し、Lu-177治療後に進行した患者においても有効性が示された。本剤はLu-177治療に抵抗性を持つ患者への新たな治療選択肢となる可能性がある。

編集判断

今週の経営判断は 標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算 に集中する。自社条件で関連証拠を再現できる場合だけ次へ進む。

経営の3アクション

1. 事業会社: プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。
2. 供給企業: 製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。
3. 経営層: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

証拠の読み方

FACTは収集記事に書かれた内容、事業への読みとACTIONは編集判断、UNKNOWNは記事だけでは確定しない項目を示す。リンク先があることだけで、全主張が独立検証済みとは扱わない。

条件と一緒に読む主要数値・証拠5件

19%

A01

数値の条件

FDAがGSK社の慢性B型肝炎(CHB)治療薬「Hibsago(bepirovirsen)」を承認した。本剤はアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で、6ヶ月の投与コースにより19%の患者が機能的治癒を達成した。希少疾患中心だった同モダリティが数億人規模の慢性感染症市場へ拡大することで、オリゴヌクレオチドの商業規模での合成・精製能力が試されることになる。

2年

A03

数値の条件

欧州委員会(EC)は、切除可能な筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)に対し、PembrolizumabとEnfortumab Vedotinの併用療法を術前および術後の補助療法として承認した。第3相試験KEYNOTE-B15において、本併用療法は化学療法と比較して2年イベントフリー生存率(EFS)を79.4%に向上させ、死亡リスクを35%低減した。

100%

A17

数値の条件

Full-Life Technologies社が開発中のPSMA標的アルファ線放射性医薬品[²²⁵Ac]Ac-FL-020について、転移性去勢抵抗性前立腺がん(mCRPC)患者を対象としたPhase 1試験の速報値が発表された。ルテチウム-177(Lu-177)未治療患者の100%がPSA50を達成し、Lu-177治療後に進行した患者においても有効性が示された。

34週

A18

数値の条件

アストラゼネカのUltomiris(一般名:ravulizumab)が、希少疾患であるIgA腎症(IgAN)の治療薬として米国食品医薬品局(FDA)から加速承認を受けた。第3相試験「I CAN」において、投与34週時点でプラセボ群に対し蛋白尿を43.4%減少させたことが示されている。これにより、同薬は5つ目の適応症を獲得し、競争が激化するIgAN治療薬市場への参入を果たした。

8.8日

A21

数値の条件

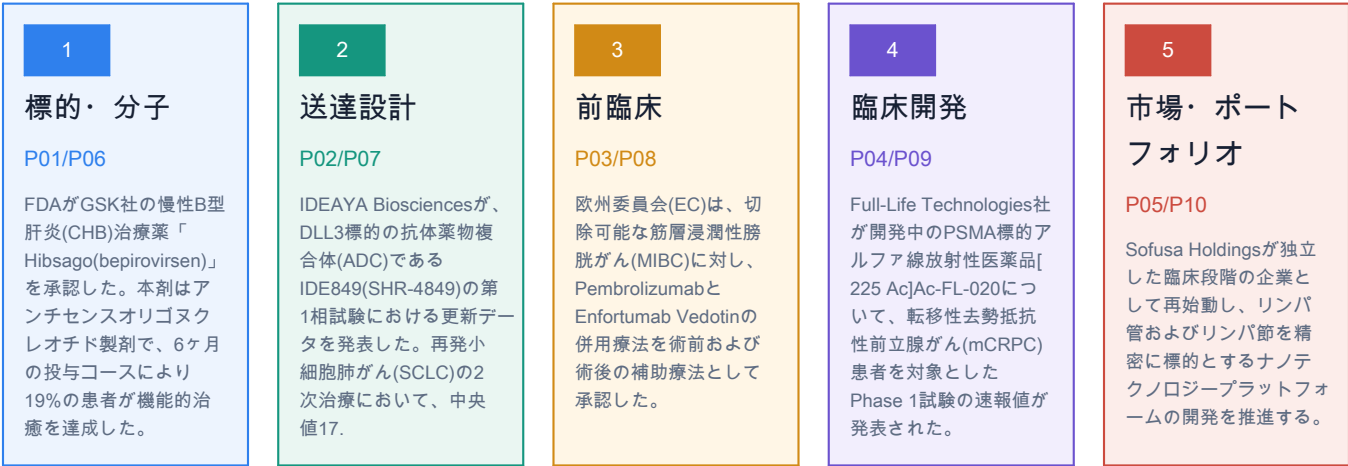
Ascleitis Pharmaは、週1回投与が可能な経口ペプチド製剤のパイプラインにおいて、有望な前臨床データを取得した。独自のPOTENT技術により、非ヒト霊長類(NHP)において最大約8.8日の半減期と10%以上の生物学的利用能を実現している。これにより、アミリン、GLP-1、GIP、GCGの4つの標的をカバーする包括的な経口治療薬の提供を目指す。

数値の読み方

数値は収集記事が示した条件と一緒に掲載する。試験法、寸法、温度、商用段階が異なる値を、条件補正なしで比較しない。

バリューチェーンはどこで動いたか

各段階に主テーマと補助テーマを接続する。矢印は装飾ではなく、次工程へ渡す証拠を示す。



各受渡しに必要な証拠

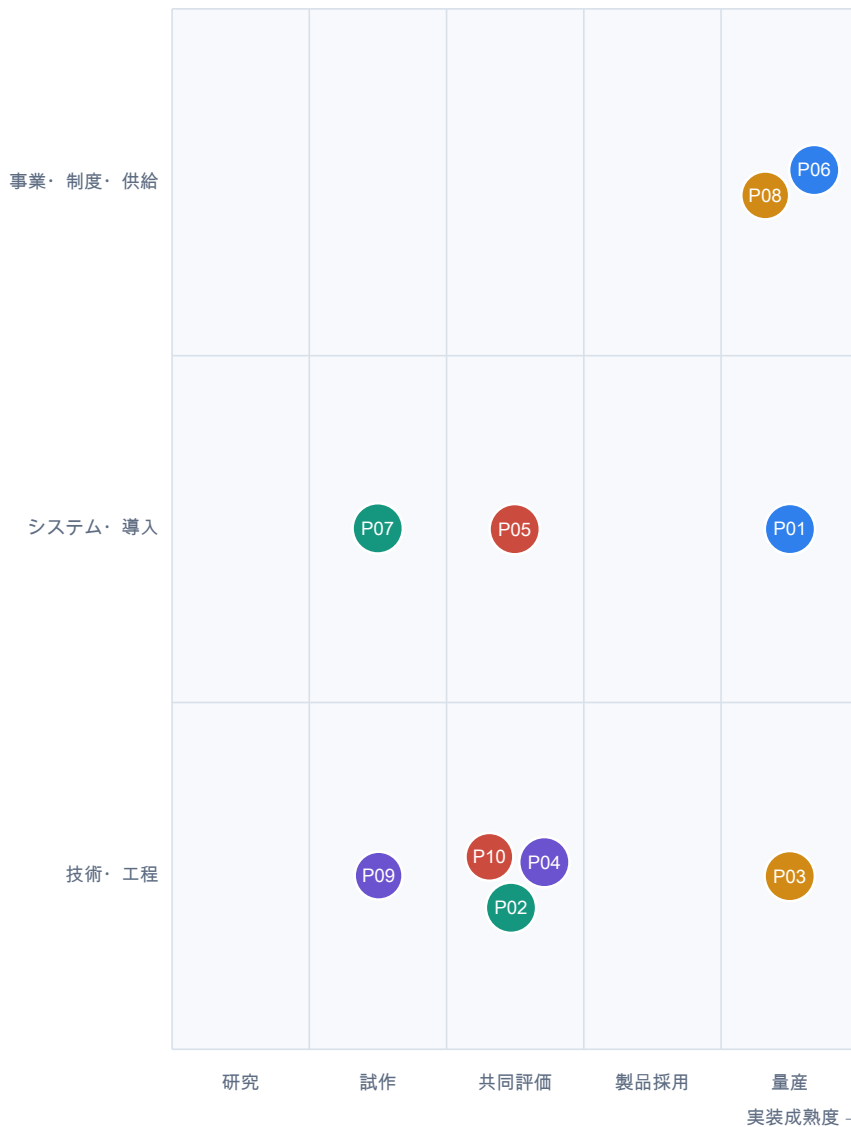
標的・分子 → 送達設計	試験条件、受入基準、故障データ、担当、判断日を渡し、再確認する: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。
送達設計 → 前臨床	試験条件、受入基準、故障データ、担当、判断日を渡し、再確認する: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。
前臨床 → 臨床開発	試験条件、受入基準、故障データ、担当、判断日を渡し、再確認する: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。
臨床開発 → 市場・ポートフォリオ	試験条件、受入基準、故障データ、担当、判断日を渡し、再確認する: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

共通管理点

担当者が関連証拠を再現し、次を記録するまで商用判断へ進めない: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

プライオリティマップ:実装成熟度と次の判断場所

次の判断場所 (上下は優劣を示さない)



P01	Bepirovirsen GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響 システム・導入 根拠: 量産
P02	IDE849 DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ 技術・工程 根拠: 統合・事業語なし
P03	Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin 切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績 技術・工程 根拠: 統合・事業語なし
P04	[225 Ac]Ac-FL-020 mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果 技術・工程 根拠: 統合・事業語なし
P05	Sofusa リンパ系標的ドラッグデリバリー技術の概要と2027年のFDA申請計画 システム・導入 根拠: 臨床
P06	Ultomiris アストラゼネカのIgA腎症治療薬、FDA承認と蛋白尿減少の効果 事業・制度・供給 根拠: FDA
P07	Asclethis 週1回投与の経口肥満治療薬、開発候補薬の性能と米Phase 1進捗 システム・導入 根拠: 臨床
P08	AlphaFold 3 創薬における信頼性スコアの有用性とBANDOCK+との性能比較 事業・制度・供給 根拠: 指針
P09	KRAS変異体標的RNAi LNPを用いた大腸がん治療と5-FU併用療法の有効性 技術・工程 根拠: 統合・事業語なし
P10	Arrowhead 血液脳関門突破技術の性能 tauタンパク質低減効果とBiogen比較 技術・工程 根拠: 統合・事業語なし

再現可能な配置ルール

横軸は研究・試作・共同評価・製品採用・量産の5段階。縦の帯は次の判断場所を技術・工程、システム・導入、事業・制度・供給に分ける。まず記事見出しの根拠語を使い、見出しで判断できない場合だけ概要を参照する。上下は影響の大小を意味しない。円径は編集スコアを示す。

FACTは収集記事に接続し、事業への読み、ACTION、UNKNOWNは編集判断として分離する。

P01

Bepirovirsen|GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響

A01 | 標的・分子 | 量産

日付未収録

FACT

FDAがGSK社の慢性B型肝炎(CHB)治療薬「Hibsgo(bepirovirsen)」を承認した。本剤はアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で、6ヶ月の投与コースにより19%の患者が機能的治癒を達成した。希少疾患中心だった同モダリティが数億人規模の慢性感染症市場へ拡大することで、オリゴヌクレオチドの商業規模での合成・精製能力が試されることになる。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP01の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 5/5 | 判断場所: システム・導入

P02

IDE849|DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ

A16 | 送達設計 | 共同評価

日付未収録

FACT

IDEAYA Biosciencesが、DLL3標的の抗体薬物複合体(ADC)であるIDE849(SHR-4849)の第1相試験における更新データを発表した。再発小細胞肺癌(SCLC)の2次治療において、中央値17.4ヶ月の全生存期間(OS)という有望な結果を示している。本剤はTOP1阻害剤をペイロードとして持ち、脳転移例や他の神経内分泌癌(NEC)に対しても高い抗腫瘍活性を確認した。これにより、未充足の医療ニーズが高いSCLCおよびNECにおける新たな治療選択肢となる可能性がある。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP02の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 3/5 | 判断場所: 技術・工程

FACTは収集記事に接続し、事業への読み、ACTION、UNKNOWNは編集判断として分離する。

P03

Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin|切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績

A03 | 前臨床 | 量産

日付未収録

FACT

欧州委員会(EC)は、切除可能な筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)に対し、PembrolizumabとEnfortumab Vedotinの併用療法を術前および術後の補助療法として承認した。第3相試験KEYNOTE-B15において、本併用療法は化学療法と比較して2年イベントフリー生存率(EFS)を79.4%に向上させ、死亡リスクを35%低減した。これにより、シスプラチン投与の可否にかかわらず、化学療法を用いない周術期治療という新たな選択肢が提供される。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP03の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 5/5 | 判断場所: 技術・工程

P04

[225 Ac]Ac-FL-020|mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果

A17 | 臨床開発 | 共同評価

日付未収録

FACT

Full-Life Technologies社が開発中のPSMA標的アルファ線放射性医薬品[225 Ac]Ac-FL-020について、転移性去勢抵抗性前立腺がん(mCRPC)患者を対象としたPhase 1試験の速報値が発表された。ルテチウム-177(Lu-177)未治療患者の100%がPSA50を達成し、Lu-177治療後に進行した患者においても有効性が示された。本剤はLu-177治療に抵抗性を持つ患者への新たな治療選択肢となる可能性がある。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP04の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 3/5 | 判断場所: 技術・工程

FACTは収集記事に接続し、事業への読み、ACTION、UNKNOWNは編集判断として分離する。

P05

Sofusa|リンパ系標的ドラッグデリバリー技術の概要と2027年のFDA申請計画

A20 | 市場・ポートフォリオ | 共同評価

日付未収録

FACT

Sofusa Holdingsが独立した臨床段階の企業として再始動し、リンパ管およびリンパ節を精密に標的とするナノテクノロジープラットフォームの開発を推進する。同社のDoseConnect®プラットフォームは、関節リウマチや難治性皮膚リンパ腫の患者において、リンパ系への薬剤投与による治療効果を実証した。これにより、従来の皮下投与よりも少ない投与量で高い治療効果を得られる可能性があり、免疫介在性疾患やがん治療の効率化が期待される。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP05の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 3/5 | 判断場所: システム・導入

P06

Ultomiris|アストラゼネカのIgA腎症治療薬、FDA承認と蛋白尿減少の効果

A18 | 標的・分子 | 量産

日付未収録

FACT

アストラゼネカのUltomiris(一般名:ravulizumab)が、希少疾患であるIgA腎症(IgAN)の治療薬として米国食品医薬品局(FDA)から加速承認を受けた。第3相試験「I CAN」において、投与34週時点でプラセボ群に対し蛋白尿を43.4%減少させたことが示されている。これにより、同薬は5つ目の適応症を獲得し、競争が激化するIgAN治療薬市場への参入を果たした。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP06の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 5/5 | 判断場所: 事業・制度・供給

FACTは収集記事に接続し、事業への読み、ACTION、UNKNOWNは編集判断として分離する。

P07

Ascletis|週1回投与の経口肥満治療薬、開発候補薬の性能と米Phase 1進捗

A21 | 送達設計 | 試作

日付未収録

FACT

Ascletis Pharmaは、週1回投与が可能な経口ペプチド製剤のパイプラインにおいて、有望な前臨床データを取得した。独自のPOTENT技術により、非ヒト霊長類(NHP)において最大約8.8日の半減期と10%以上の生物学的利用能を実現している。これにより、アミリン、GLP-1、GIP、GCGの4つの標的をカバーする包括的な経口治療薬の提供を目指す。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP07の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 19/25 | 成熟度 2/5 | 判断場所: システム・導入

P08

AlphaFold 3|創薬における信頼性スコアの有用性とBANDOCK+との性能比較

A09 | 前臨床 | 量産

日付未収録

FACT

AlphaFold 3(AF3)の信頼性スコアが、マルチスケール創薬においてどの程度有用であるかを検証した研究結果が公開されました。承認済み薬剤とヒトタンパク質ライブラリを用いたベンチマークにおいて、AF3のipTMは1,103個のタンパク質比較で、疾患ランキングスコアにおいてBANDOCK+をわずかに上回る性能を示しました。一方で、計算コストとスケーラビリティの面ではBANDOCK+に分があり、より広範なタンパク質カバー率を実現しています。予測性能と計算効率のトレードオフを明確にしたことで、計算創薬における適切な手法選択の指針となります。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP08の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 18/25 | 成熟度 5/5 | 判断場所: 事業・制度・供給

FACTは収集記事に接続し、事業への読み、ACTION、UNKNOWNは編集判断として分離する。

P09

KRAS変異体標的RNAi|LNPを用いた大腸がん治療と5-FU併用療法の有効性

A13 | 臨床開発 | 試作

日付未収録

FACT

脂質ナノ粒子(LNP)を用いたRNA干渉(RNAi)戦略により、大腸がんの主要なドライバーであるKRAS変異体(G12D, G12V, G13D)を標的とした治療法が開発されました。単一のsiRNA配列を用いてこれら3つの変異体の発現を抑制し、細胞増殖や遊走を抑制することに成功しています。さらに、化学療法剤5-FUとの併用により相乗的な抗腫瘍効果が得られることが示されました。これにより、これまで治療薬に限られていたKRAS変異大腸がんに対する新たな治療アプローチが提示されています。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP09の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 18/25 | 成熟度 2/5 | 判断場所: 技術・工程

P10

Arrowhead|血液脳関門突破技術の性能|tauタンパク質低減効果とBiogen比較

A15 | 市場・ポートフォリオ | 共同評価

日付未収録

FACT

Arrowhead Pharmaceuticalsが開発中のsiRNA候補薬「ARO-MAPT」が、健康な被験者を対象とした初期試験において、脳脊髄液(CSF)中のtauタンパク質レベルを大幅に減少させた。投与量に応じて40%から最大85%の減少率を記録し、皮下投与で血液脳関門(BBB)を突破する同社のプラットフォームの有効性が示された。この結果は、脊髄へ直接投与する競合技術よりも高い効果を持つ可能性があり、アルツハイマー病治療における競争力を高めるものとして注目されている。

なぜ重要か

判断上の焦点は「標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算」である。見出しだけで採用せず、用途と運用条件で再現できるかを確認する。

事業への読み

事業会社は現在の認定・調達・製品ロードマップへの影響を比較する。材料・装置・技術企業は、製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する。

ACTION

30日以内に、プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける。結果と担当者をP10の評価票へ記録する。

UNKNOWN

記事だけでは確定しない項目: 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。

編集スコア 18/25 | 成熟度 3/5 | 判断場所: 技術・工程

関係者別プレイブックと0-5年ロードマップ

関係者	NOW 0-30日	NEXT 1-12か月	LATER 1-5年
事業会社	プラットフォームの期待と品目別の有効性・安全性を分ける	量産相当条件で受入基準と停止基準を明示して評価する。	技術・供給者の変更を吸収できるポートフォリオと設計へ移る。
材料・装置・技術企業	製剤、担体、分析を曝露、製造再現性、規制管理へ接続する	顧客と信頼性・工程窓・故障解析の共通データを作る。	界面、履歴、ライフサイクル支援、回収サービスを標準化する。
商社・投資・法務	Map 再現性、分布、毒性、CMC、試験設計、資金。	能力、品質、変更通知、責任、代替、撤退を契約へ入れる。	地域・技術・顧客の集中リスクを分散する。

ロードマップ

NOW 0-30日 証拠台帳 担当: Strategy + quality 成果物: claim, source, condition, owner	NOW 0-30日 リスク選別 担当: Procurement + legal 成果物: unknowns, alternatives, stop	NEXT 1-12か月 共同認定 担当: R&D + supplier 成果物: 工程窓・故障データ
NEXT 1-12か月 商用ゲート 担当: Business + finance 成果物: 単位採算・供給能力	LATER 1-5年 プラットフォーム戦略 担当: 経営 成果物: ポートフォリオ・界面ロードマップ	LATER 1-5年 サービス層 担当: Operations + channel 成果物: 監視・保守・回復

Go / No-Goゲート

ゲート	担当	必要な証拠	中止条件
G1 証拠	品質	出典・試験条件・再現性	追跡可能な証拠なし
G2 統合	研究開発	界面・工程窓・故障解析	システム条件を満たさない
G3 商用	事業	能力・総原価・契約・代替	採算または供給が成立しない
G4 運用	運用	監視・保守・変更通知・撤退	責任ある運用計画なし

分析対象記事 | 01-11件目

全記事の正式タイトルと元記事URLを省略せず表示する。URLは折返しても全文を保持し、クリックできる。

ID	記事タイトル(全文)	元記事URL(全文・ クリック可能)
A01	Bepirovirsen GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響	https://www.pharmtech.com/view/fda-approves-bepirovirsen-why-oligonucleotide-cdmos-should-take-note
A02	Sofetabart Mipitecan 卵巣がん向けADCのFRα発現レベル別有効性と性能	https://www.targetedonc.com/view/sofetabart-mipitecan-responses-fr-levels-ovarian-cancer
A03	Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin 切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績	https://www.onclive.com/view/pembrolizumab-plus-enfortumab-vedotin-earns-ec-approval-in-resectable-mibc
A04	Moderna・ MSDの個別化がんワクチン メラノーマ再発リスク低減の性能と承認時期	https://pharmaphorum.com/news/esmo26-moderna-msd-reveal-cancer-jab-d-ata-early-after-leak
A05	RPT04402 分子接着剤によるPP2A安定化で肺がん・ 子宮がんを抑制する仕組み	https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/stabilizing-pp2a-with-a-molecular-glue-suppresses-cancer-growth-417662
A06	SCA3治療用ASO 疾患原因タンパク質を90%削減し正常型を維持する新手法	https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/targeted-asos-cut-disease-causing-ataxin-3-by-90-in-brain-disorder-417637
A07	細胞ナノディスク サイズが薬物輸送性能に与える影響と設計指針(UCサンディエゴ大)	https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/smaller-nanodiscs-show-greater-potential-for-drug-delivery-417594
A08	RFD4-Proteinaとは NvidiaとUWが開発したオープンソース蛋白質設計AIの性能	https://www.genengnews.com/topics/artificial-intelligence/nvidia-uw-institute-for-protein-design-unveil-open-source-protein-design-ai-model/
A09	AlphaFold 3 創薬における信頼性スコアの有用性とBANDOCK+との性能比較	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.19.757941v2
A10	Cereblon Cys287を標的としたアロステリック阻害によるタンパク質分解制御	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.10.758245v1
A11	MA2 MDA5を標的とする初の分子接着剤、免疫活性化のメカニズムと性能	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.14.759171v1

分析対象記事 | 12-21件目

全記事の正式タイトルと元記事URLを省略せず表示する。URLは折返しても全文を保持し、クリックできる。

ID	記事タイトル(全文)	元記事URL(全文・クリック可能)
A12	cGAS R241EとIL-12TM mRNA LNPによる全身性腫瘍制御のメカニズムと性能	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.15.759215v1
A13	KRAS変異体標的RNAi LNPを用いた大腸がん治療と5-FU併用療法の有効性	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.15.759489v1
A14	脂質ナノ粒子(LNP) 鳥類胚への高効率な遺伝子編集と表現型生成の手法	https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.13.753869v1
A15	Arrowhead 血液脳関門突破技術の性能 tauタンパク質低減効果とBiogen比較	https://www.biospace.com/drug-development/arrowheads-blood-brain-barrier-tech-is-arguably-better-than-others-analysts-say-after-data-drop
A16	IDE849 DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ	https://www.prnewswire.com/news-releases/ide849-shr-4849-dll3-top1-adc-updated-phase-1-results-at-esmo-2026-demonstrates-promising-anti-tumor-activity-and-preliminary-overall-survival-results-in-relapsed-small-cell-lung-cancer-and-neuroendocrine-carcinomas-302917466.html
A17	[225 Ac]Ac-FL-020 mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果	https://www.prnewswire.com/news-releases/full-life-technologies-reports-encouraging-preliminary-phase-1-safety-and-psa-decline-for-fl-020-in-mcrpc-at-esmo-2026-302917477.html
A18	Ultomiris アストラゼネカのIgA腎症治療薬、FDA承認と蛋白尿減少の効果	https://pharmaphorum.com/news/az-grabs-fda-nod-ultomiris-rare-kidney-disease-igan
A19	PAK BioSolutions AAV8連続精製プロセスの性能とフルカブシド濃縮率	https://www.prnewswire.com/news-releases/pak-biosolutions-and-ibet-advance-integrated-continuous-aav8-purification-302917199.html
A20	Sofusa リンパ系標的ドラッグデリバリー技術の概要と2027年のFDA申請計画	https://www.biospace.com/press-releases/sofusa-holdings-relaunches-as-independent-company-to-advance-lymphatic-drug-delivery
A21	Ascletis 週1回投与の経口肥満治療薬、開発候補薬の性能と米Phase 1進捗	https://biopharmaapac.com/news/31/8582/ascletis-reports-promising-preclinical-data-for-once-weekly-oral-obesity-treatments-advances-us-phase-1-trial.html

創薬・DDS 採用記事全文集

出力日: 2026-10-24

採用記事数: 21 件

収録記事一覧

- #01 Bepirovirsen | GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響
- #02 Sofetabart Mipitecan | 卵巣がん向けADCのFR α 発現レベル別有効性と性能
- #03 Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin | 切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績
- #04 Moderna・MSDの個別化がんワクチン | メラノーマ再発リスク低減の性能と承認時期
- #05 RPT04402 | 分子接着剤によるPP2A安定化で肺がん・子宮がんを抑制する仕組み
- #06 SCA3治療用ASO | 疾患原因タンパク質を90%削減し正常型を維持する新手法
- #07 細胞ナノディスク | サイズが薬物輸送性能に与える影響と設計指針 (UCサンディエゴ大)
- #08 RFD4-Proteinaとは | NvidiaとUWが開発したオープンソース蛋白質設計AIの性能
- #09 AlphaFold 3 | 創薬における信頼性スコアの有用性とBANDOCK+との性能比較
- #10 Cereblon | Cys287を標的としたアロステリック阻害によるタンパク質分解制御
- #11 MA2 | MDA5を標的とする初の分子接着剤、免疫活性化のメカニズムと性能
- #12 cGAS R241EとIL-12TM | mRNA LNPによる全身性腫瘍制御のメカニズムと性能
- #13 KRAS変異体標的RNAi | LNPを用いた大腸がん治療と5-FU併用療法の有効性
- #14 脂質ナノ粒子 (LNP) | 鳥類胚への高効率な遺伝子編集と表現型生成の手法
- #15 Arrowhead | 血液脳関門突破技術の性能 | tauタンパク質低減効果とBiogen比較
- #16 IDE849 | DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ
- #17 [225 Ac]Ac-FL-020 | mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果
- #18 Ultomiris | アストラゼネカのIgA腎症治療薬、FDA承認と蛋白尿減少の効果
- #19 PAK BioSolutions | AAV8連続精製プロセスの性能とフルカプシド濃縮率
- #20 Sofusa | リンパ系標的ドラッグデリバリー技術の概要と2027年のFDA申請計画
- #21 Ascletis | 週1回投与の経口肥満治療薬、開発候補薬の性能と米Phase 1進捗

#01 Bepirovirsen | GSKのB型肝炎治療薬、FDA承認による量産課題とCDMOへの影響

公開日 2026年10月21日 PharmTech アメリカ



概要

FDAがGSK社の慢性B型肝炎（CHB）治療薬「Hibsago（bepirovirsen）」を承認した。本剤はアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で、6ヶ月の投与コースにより19%の患者が機能的治癒を達成した。希少疾患中心だった同モダリティが数億人規模の慢性感染症市場へ拡大することで、オリゴヌクレオチドの商業規模での合成・精製能力が試されることになる。

詳細

主要成果

FDAは、GSK社が開発したアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤「Hibsago (bepirovirsen)」を、核酸アナログ療法との併用による慢性B型肝炎（CHB）治療薬として承認した。本剤は優先審査および画期的治療薬指定（Breakthrough Therapy Designation）を受けている。承認対象は、少なくとも6ヶ月間の核酸アナログ療法を受け、ウイルスDNAが抑制され、かつFDA認定試験でHBsAg（B型肝炎表面抗原）レベルが3000 IU/ml以下である肝硬変のない成人患者である。

技術・詳細

bepirovirsenは、ウイルスRNAの産生を抑制することで血中のウイルス蛋白およびHBsAgを減少させ、免疫系の制御回復を促す設計となっている。最大の特徴は、従来の抗ウイルス薬の多くが不定期間の投与を必要とするのに対し、本剤は6ヶ月の限定的な投与コースで完了する点にある。また、初回投与後は患者による自己投与が可能という利便性も備えている。

承認の根拠となった29カ国での第Ⅲ相試験（B-Well 1およびB-Well 2）の統合データでは、bepirovirsen投与群の19%（1220人中233人）が機能的治癒を達成した。対照的にプラセボ群（614人）では達成者はゼロであり、標準治療のみでの機能的治癒率が1年後で通常1%未満であることと比較して有意な結果となった。なお、機能的治癒は、全治療停止後少なくとも24週間、ウイルスDNAおよびHBsAgが検出不能である状態と定義される。また、ベースラインのHBsAgが1000 IU/ml以下の患者群（世界的な診断例の約45%に相当）では、機能的治癒率は26%（768人中200人）に達した。

背景・業界の文脈

今回の承認は、これまで主に希少疾患向けに商用化されていたアンチセンスオリゴヌクレオチドが、米国で約170万人、世界で2億4000万人以上が罹患する慢性感染症という巨大市場へ進出したことを意味する。このシフトにより、固相合成、精製、および分析能力の商業規模での実装が強く求められる。また、生涯にわたる維持投与ではなく「6ヶ月の限定コース」という特性から、需要予測の基準が「維持患者数」ではなく「新規治療開始患者数」に移行する。

今後の展望

製造面では、オリゴヌクレオチド特有の膨大な原材料消費が課題となる。GSKのプロセス化学者が主導した2021年の報告によると、開発段階の8つのプロセスにおける平均プロセス質量強度（PMI）は4299であり、低分子化合物の中央値（168～308）を大幅に上回る。これは医薬品原薬1kgあたり約4300kgの原材料を消費することを意味し、特に脱トリチル化工程が合成段階の材料の約半分を消費する。また、数日を要する凍結乾燥工程が商業供給のボトルネックになると指摘されている。今後、同様のプログラムが進展することで、機敏な対応が可能なCDMOへの需要が高まると予想される。

元記事: <https://www.pharmtech.com/view/fda-approves-bepirovirsen-why-oligonucleotide-cdmos-should-take-note>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#02 Sofetabart Mipitecan | 卵巣がん向けADCのFR α 発現レベル別有効性と性能

公開日 2026年10月22日 Targeted Oncology アメリカ



概要

FR α （葉酸受容体 α ）を標的とした抗体薬物複合体（ADC）であるsofetabart mipitecan（LY4170156）が、高悪性度卵巣がん（HGOC）患者において高い有効性と安全性を実証した。第1相試験では、腫瘍のFR α 発現レベルやmirvetuximab soravtansineの投与歴に関わらず、客観的奏効率（ORR）50.5%を達成した。これにより、FR α 低発現の患者を含む幅広い層への治療適応が広がる可能性がある。

主要成果

第1相試験の結果、sofetabart mipitecanは、前治療を多く受けた高悪性度卵巣がん（HGOC）患者の約半数において奏効を示した。105名の患者を対象とした用量探索パートにおける確認済み客観的奏効率（ORR）は50.5%（95% CI: 40.5%-60.4%）であり、内訳は完全奏効（CR）5例（4.8%）、部分奏効（PR）48例（45.7%）であった。また、中央値での無増悪生存期間（PFS）は8.1ヶ月（95% CI: 6.4-8.5）を記録した。特に、第3相試験の推奨用量として選定された3 mg/kg群では、ORRが58.8%（95% CI: 32.9%-81.6%）に達した。

技術・詳細

本剤は、FcサイレントなFR α 特異的ヒト化IgG1抗体に、トポイソメラーゼI阻害剤であるexatecanを、切断可能な親水性ポリサルコシンリンカーで結合させたADCである。薬物抗体比（DAR）は8であり、血中でのリンカー安定性が高く、ピーク濃度時に放出されるペイロードは3%未満であることが報告されている。

有効性の解析では、FR α 発現レベルによる差が少ないことが示された。FR α 発現が75%未満の患者におけるORRは44.4%（95% CI: 30.9%-58.6%）であり、75%以上の患者では56.5%（95% CI: 41.1%-71.1%）であった。また、mirvetuximab soravtansineの既投与者19名においてもORR 57.9%（95% CI: 33.5%-79.7%）、中央値PFS 7.8ヶ月という結果が得られた。疾患制御率（DCR）は80.0%で、奏効までの期間の中央値は2.1ヶ月であった。

安全性に関しては、主な治療関連有害事象（TEAE）として、悪心（64.8%）、疲労（56.2%）、貧血（47.6%）が報告された。グレード3以上のTEAEは42.9%に発生し、主にグレード3の貧血（21.9%）やグレード3/4の好中球減少症が見られた。なお、角膜症の報告はなく、視覚障害（8.6%）やドライアイ（6.7%）などの眼科的イベントはすべてグレード1または2であった。

背景・業界の文脈

卵巣がんの最大90%でFR α が過剰発現しているが、既存の承認済みADCである mirvetuximab soravtansine は、細胞の75%以上に強陽性（2+以上）の発現が認められる患者に限定されており、これはプラチナ抵抗性卵巣がん（PROC）患者の約3分の1に相当する。sofetabart mipitecan は、この発現レベルの制限に関わらず奏効を示すことで、より多くの患者への適用を目指している。

今後の展望

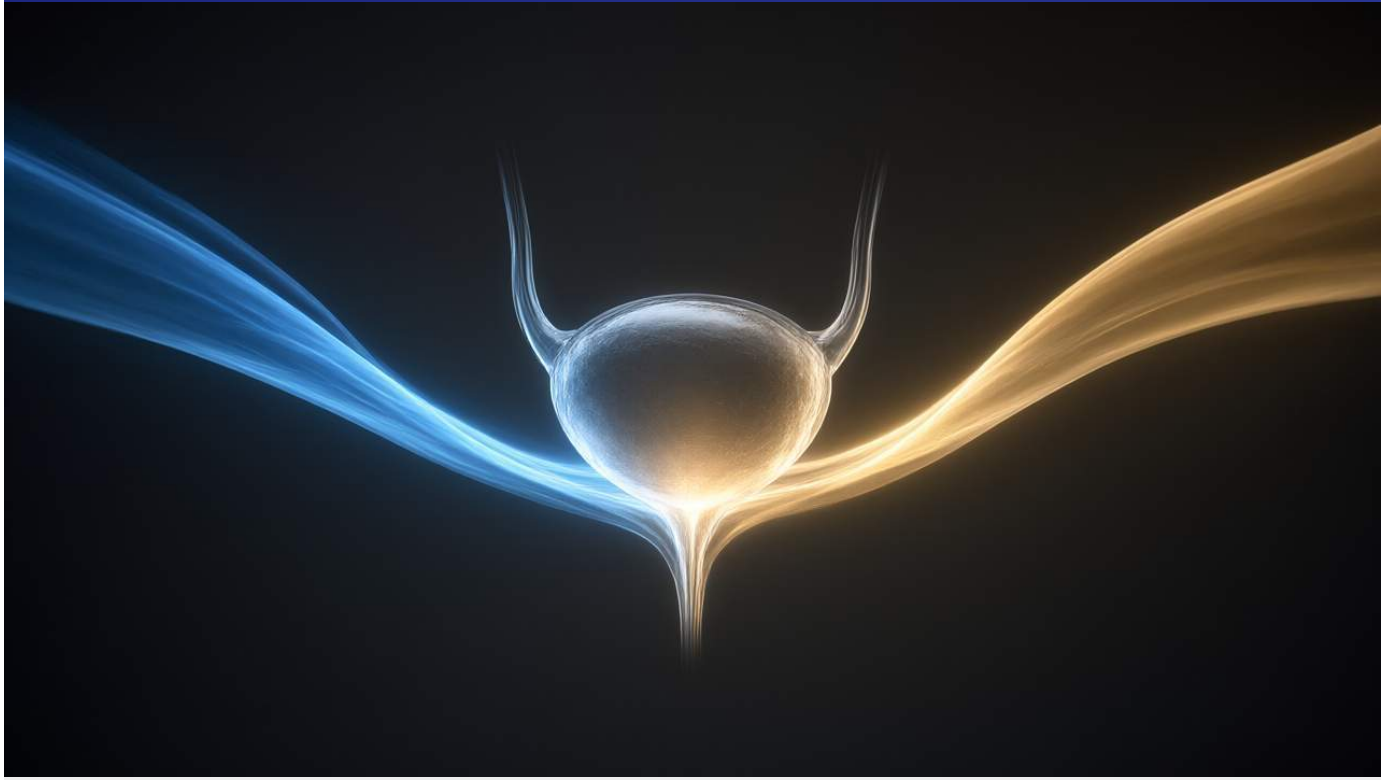
用量最適化の結果、有効性と安全性のバランスから 3 mg/kg が第3相試験（FRAmework-01試験）の推奨用量として選定された。4 mg/kg では同等の奏効率が得られたが、グレード3以上のTEAE（56.4% vs 35.3%）および用量減量（41.0% vs 23.5%）の頻度が3 mg/kg より高かったためである。また、2026年1月には、米国FDAよりプラチナ抵抗性上皮性卵巣がん患者を対象としたブレイクスルーセラピー指定を受けている。

元記事: <https://www.targetedonc.com/view/sofetabart-mipitecan-responses-fr-levels-ovarian-cancer>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#03 Pembrolizumab+Enfortumab Vedotin | 切除可能MIBCにおけるEC承認と治療成績

公開日 2026年10月21日 OncLive アメリカ



概要

欧州委員会（EC）は、切除可能な筋層浸潤性膀胱がん（MIBC）に対し、PembrolizumabとEnfortumab Vedotinの併用療法を術前および術後の補助療法として承認した。第3相試験KEYNOTE-B15において、本併用療法は化学療法と比較して2年イベントフリー生存率（EFS）を79.4%に向上させ、死亡リスクを35%低減した。これにより、シスプラチン投与の可否にかかわらず、化学療法を用いない周術期治療という新たな選択肢が提供される。

主要成果

欧州委員会（EC）は、切除可能な筋層浸潤性膀胱がん（MIBC）の成人患者を対象に、Pembrolizumab（Keytruda）とEnfortumab Vedotin（Padcev）の併用療法を、術前補助療法および根治的膀胱全摘術後の術後補助療法として承認した。この承認は、シスプラチン投与の適格性にかかわらず適用される。また、Pembrolizumabの皮下投与製剤であるPembrolizumabおよびberahyaluronidase alfa（Keytruda Qlex）についても同様に承認された。

技術・詳細

本決定の根拠となったのは、オープンラベル、ランダム化第3相試験「KEYNOTE-B15/EV-304」の結果である。シスプラチン適格患者において、本併用療法を術前補助療法として投与し、その後手術を行う群と、術前補助療法としてGemcitabine（Gemzar）とCisplatin（Platinol）を投与し手術を行う群を比較した。ランダム化からデータカットオフまでの期間中央値33.6ヶ月において、推定2年イベントフリー生存率（EFS）は併用療法群が79.4%であり、化学療法群の66.2%を上回った（ハザード比 0.53; 95% CI, 0.41-0.70; $P < .0001$ ）。

その他の主要な評価項目では、推定2年全生存率（OS）が併用療法群で86.9%（化学療法群は81.3%; ハザード比 0.65; 95% CI, 0.48-0.89; $P = .006$ ）、病理学的完全奏効（pCR）率が併用療法群で55.8%（化学療法群は32.5%; $P < .001$ ）であった。安全性に関しては、グレード3以上の有害事象（AE）の発現率は併用療法群で75.7%、化学療法群で67.2%であった。併用療法群で頻見された有害反応（20%以上）には、発疹（63%）、疲労（48%）、皮膚瘙痒症（46%）、末梢神経障害（43%）などが含まれる。

背景・業界の文脈

MIBCにおいてシスプラチンベースの化学療法は標準的な治療アプローチであったが、再発が大きな課題となっていた。本試験の主要研究者であるAlfonso Gómez de Liaño 医師は、今回の承認がEUにおけるMIBC患者にとって意味のある前進であり、シスプラチンの適格性に左右されない化学療法フリーの周術期治療オプションを拡大させると述べている。なお、米国FDAにおいても2026年7月に、シスプラチン適格性の有無にかかわらず、本併用療法を術前および術後療法として承認しており、以前のシスプラチン不適格患者に限定されていた適応が拡大されている。

今後の展望

本試験では、808名の成人患者を対象に、主に尿路上皮組織学であり、臨床的にT2-T4aN0M0またはT1-T4aN1M0の疾患を持つ患者が組み入れられた。併用療法群では、術前にPembrolizumab（200 mg）とEnfortumab Vedotin（1.25 mg/kg）を4サイクル投与し、手術後にEnfortumab Vedotinを5サイクル、Pembrolizumabを13サイクル投与するレジメンが採用された。化学療法を用いないこの新しい治療戦略が、今後のMIBC治療の標準的な選択肢としてどのように浸透していくかが注目される。

元記事: <https://www.onclive.com/view/pembrolizumab-plus-enfortumab-vedotin-earns-ec-approval-in-resectable-mibc>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#04 Moderna・MSDの個別化がんワクチン | メラノーマ再発リスク低減の性能と承認時期

公開日 2026年10月23日 pharmaphorum イギリス



概要

ModernaとMSDが開発中の個別化がんワクチン「intismeran autogene」が、切除後のメラノーマ患者において再発や死亡のリスクを大幅に低減させることが判明した。キードルダ（ペムブロリズマブ）単剤療法と比較して、24ヶ月時点での再発または死亡のリスクを42%抑制し、無再発生存率（RFS）は82.2%に達した。本成果は、mRNA技術を用いた個別化治療が標準治療を上回る臨床的意義を持つことを示す重要なマイルストーンとなる。

詳細

主要成果

ModernaとMSDが共同開発している個別化がんワクチン「intismeran autogene」と、MSDの免疫療法剤キードルダ（ペムブロリズマブ）の併用療法が、完全切除後のステージIIIB-IVのメラノーマ患者において、顕著な治療効果を示した。第3相試験「INTerpath-001」の結果、併用療法はキードルダ単剤療法と比較して、24ヶ月時点での再発または死亡のリスクを42%低減させた（ハザード比 0.58）。

具体的な生存率データでは、24ヶ月時点の無再発生存率（RFS）が併用群で82.2%であったのに対し、対照群（キードルダ単剤）では70.0%であった。また、遠隔転移なし生存率（DMFS）においても、併用群が88.5%、単剤群が80.2%となり、38%の改善が確認された。これらの利益は試験に含まれる異なる患者グループ間で一貫して見られ、安全性データも先行研究と整合している。

技術・詳細

本ワクチンは、患者個々の腫瘍をサンプリングして固有の変異シグネチャーを特定し、最大34個のがんネオアンチゲン（健康な細胞には存在せず、腫瘍細胞にのみ現れる抗原）を特定して製造される。このmRNA技術を用いることで、患者一人ひとりの腫瘍に最適に適合した治療法の開発が可能となり、免疫系にがん細胞を攻撃させるよう促す仕組みとなっている。

背景・業界の文脈

本データは、スペインのマドリードで開催される欧州腫瘍学会（ESMO）での発表を予定していたが、データ漏洩（リーク）が発生したため、予定より早く公開されることとなった。このリークを受け、Modernaの株価は約18%下落し、MSDの株価もわずかに下落した。これは、RFSおよびDMFSの結果が中期試験でなされていた期待値をわずかに下回ったことや、8月の成果示唆後の株価上昇に対する修正局面であったことが要因と考えられる。

MSDの研究開発責任者であるDean Li氏は、本試験が標準治療であるキードルダに対し、RFSおよびDMFSにおいて臨床的に意味のある改善を実証した初の第3相試験であると述べており、免疫療法の登場以来、メラノーマ治療における最も重要な進展の一つであると評価している。

今後の展望

ModernaとMSDは現在、intismeran autogeneの販売承認申請の準備を進めており、早ければ来年にも承認される可能性がある。アナリストは、本剤が承認されれば単体で数十億ドルの売上を創出する可能性があるとは指摘している。また、この成果はModernaが推進するmRNAベースのがんワクチンパイプライン全体に道を開くものであり、現在進行中の肺がん、腎がん、膀胱がんなどの試験への波及効果が期待される。

元記事: <https://pharmaphorum.com/news/esmo26-moderna-msd-reveal-cancer-jab-data-early-after-leak>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#05 RPT04402 | 分子接着剤によるPP2A安定化で肺がん・子宮がんを抑制する仕組み

公開日 2026年10月23日 Technology Networks アメリカ



概要

ミシガン大学の研究チームが、分子接着剤（molecular glue）を用いて腫瘍抑制タンパク質「PP2A」を安定化させ、がん細胞の増殖を抑制することに成功した。非小細胞肺癌ではKRAS変異に伴う薬剤耐性を克服し、高悪性度の子宮がんでは腫瘍の縮小を確認している。このアプローチは、従来の治療法に耐性を持つがんや、治療困難な高悪性度がんに対する新たな治療戦略となる可能性がある。

主要成果

ミシガン大学の研究チームは、分子接着剤「RPT04402」を用いることで、がん抑制に不可欠なタンパク質複合体であるPP2A（プロテインホスファターゼ2A）の構造を安定化させ、がん細胞の増殖を抑制できることを明らかにした。この成果は、KRAS変異を持つ非小細胞肺癌および高悪性度の子宮がんの2つの研究において確認されており、特に肺癌においては既存薬による耐性問題を解決する可能性が示された。

技術・詳細

PP2Aは3つのタンパク質が結合して機能する複合体であり、多くの細胞シグナル伝達経路を制御して腫瘍を抑制する役割を持つ。しかし、肺癌、子宮がん、前立腺がん、肝がんなどでは、このPP2Aが適切に組み立てられないことが一般的である。研究チームは、RPT04402という分子接着剤がPP2Aの構造維持を助けることで、その機能を回復させられることを突き止めた。

非小細胞肺癌に関する研究では、以下の点が明らかになった。

- KRAS変異（非小細胞肺癌の30%に発生）を持つ細胞において、既存の抗がん剤であるadagrasibおよびtrametinibがPP2Aを不安定化させることが判明した。これが治療への耐性獲得の原因であると考えられる。
- RPT04402を併用することでPP2A複合体が安定化し、がん細胞の死が誘導された。
- マウスモデルにおいて、adagrasibまたはtrametinibにRPT04402を組み合わせたところ、耐性が遅延し、治療効果が150日以上にまで延長し、腫瘍の縮小が確認された。

また、子宮がんに関する研究では、高悪性度の子宮がんを駆動させるPP2Aの再発性変異に着目した。マウスの細胞および患者由来の腫瘍モデルを用いた試験において、RPT04402がPP2Aの腫瘍抑制能を回復させ、腫瘍の増殖とサイズを減少させた。この際、体重減少や毒性は見られなかったという。

背景・業界の文脈

肺がんは米国で2番目に多いがんであり、死因の第1位となっている。その80%以上を占める非小細胞肺がんでは、KRAS変異を持つ患者の生存期間が短く、治療への耐性が課題となっていた。また、女性生殖器系で最も一般的かつ致死的な悪性腫瘍である子宮がん、特に高悪性度タイプでは、手術や免疫療法への反応が悪い、あるいは再発することが多い。高悪性度子宮がんのドライバー（要因）を直接標的とする治療法は、本研究が初めてであるとされる。

今後の展望

研究チームは、Spring Works TherapeuticsおよびMerckと協力して臨床試験を開始する計画である。今後は、非小細胞肺がんの全症例への適用可能性を検証するとともに、膵臓がんや大腸がんなど、他のKRAS変異腫瘍への展開を目指す。さらに、PP2A変異を持つ他の種類のがんや、神経発達障害への応用についても検討を進めるとしている。

元記事: <https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/stabilizing-pp2a-with-a-molecular-glue-suppresses-cancer-growth-417662>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#06 SCA3治療用ASO | 疾患原因タンパク質を90%削減し正常型を維持する新手法

公開日 2026年10月22日 Technology Networks ドイツ



概要

DZNEとチュービンゲン大学HIHなどの研究チームが、脊髄小脳変性症3型（SCA3）に対する新しいアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）治療法を開発し、ヒト神経細胞を用いた試験で成果を上げた。この手法は、疾患の原因となる毒性Ataxin-3を約90%削減しつつ、細胞に不可欠な正常タンパク質を維持することに成功した。従来のASO治療で課題となっていた「正常タンパク質まで同時に減少させてしまう」という副作用を回避できるため、症状の緩和と進行抑制につながる可能性がある。

詳細

主要成果

ドイツのDZNE（ドイツ神経変性疾患センター）およびチュービンゲン大学のヘルティエ臨床脳研究機構（HIH）を中心とする国際研究チームが、希少な神経変性疾患である脊髄小脳変性症3型（SCA3）の新たな治療アプローチを開発した。ラボで培養したヒト神経細胞を用いた試験において、疾患の原因となる毒性タンパク質「Ataxin-3」の量を約90%削減することに成功した。特筆すべきは、疾患に関連する有害なタンパク質のみを標的とし、細胞内で重要な機能を担う正常なAtaxin-3タンパク質をほぼ維持できた点にある。

技術・詳細

本研究で用いられたのは、カスタム設計されたアンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）という薬剤である。ASOは、ゲノムからタンパク質製造工場へと設計図を運ぶmRNA（メッセンジャーRNA）に結合し、その分解を誘導することで、特定のタンパク質の産生を抑制する仕組みを持つ。

SCA3は、DNAの特定の配列が過剰に繰り返される遺伝子変異によって、有害な形態のAtaxin-3が生成されることで発症する。通常、人間はこの遺伝子を2コピー持っており、SCA3患者では一般的に一方のコピーにのみ変異があり、もう一方は正常なAtaxin-3を産生し続けている。研究チームは、この「変異コピー」と「正常コピー」のわずかな違いを識別するため、79人のSCA3患者のゲノムを解析し、SNP（一塩基多型）と呼ばれる微細な差異を特定した。このSNPを標的としてASOを設計したことで、正常なmRNAは温存し、疾患原因となるmRNAのみを選択的に分解させる「高度に特異的な」アプローチを実現した。

背景・業界の文脈

SCA3（別名：マシャド・ジョセフ病）は、歩行困難、言語障害、眼球運動の異常などを引き起こす深刻な遺伝性脳疾患である。これまでもASOを用いた治療アプローチは検討されてきたが、多くの場合、毒性タンパク質を攻撃する際に正常な形態のタンパク質まで巻き添えにして減少させてしまうという「コラテラルダメージ（付随的被害）」が課題となっていた。正常なAtaxin-3は細胞内で重要な機能を果たしているため、これを維持しつつ有害なものだけを除去する技術は、治療の安全性と有効性を高める上で極めて重要である。

今後の展望

研究チームは今後、より複雑な実験室研究を通じてこの治療コンセプトをさらに洗練させる計画である。具体的には、最も有望なASOの最適化を行い、さらなる有効性と安全性の検証を行う。最終的な目標は臨床試験を通じてヒトへの適用を検証することにあるが、研究グループリーダーのStefan Hauser博士は、そこに至るまでにはまだ時間がかかるとの見通しを示している。

元記事: <https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/targeted-asos-cut-disease-causing-ataxin-3-by-90-in-brain-disorder-417637>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#07 細胞ナノディスク | サイズが薬物輸送性能に与える影響と設計指針 (UCサンディエゴ大)

公開日 2026年10月21日 Technology Networks アメリカ



概要

カリフォルニア大学サンディエゴ校の研究チームが、細胞ナノディスクのサイズを縮小することで、生物学的標的への結合能と細菌毒素の無害化能力が劇的に向上することを明らかにしました。直径71、26、15ナノメートルの3種類を比較した結果、最小のナノディスクが最も高い性能を示し、マウス実験でも最大の保護効果を確認しています。この成果は、計算科学と実験を組み合わせた新たな設計指針を提示するものであり、次世代の膜ベース治療薬の開発を加速させると期待されます。

主要成果

カリフォルニア大学サンディエゴ校（UC San Diego）の研究チームは、細胞膜を模倣した微小粒子である「細胞ナノディスク」において、粒子サイズが治療性能を決定づける重要な要因であることを突き止めました。特にサイズを縮小させることで、生物学的標的への結合効率が向上し、有害な細菌毒素を中和する能力が大幅に改善されることが判明しました。この研究結果は、学術誌『Small』に掲載されています。

技術・詳細

研究チームは、赤血球由来の細胞ナノディスクを、直径が約71ナノメートル、26ナノメートル、15ナノメートルの3つの異なるサイズで設計しました。サイズ以外の条件をほぼ同一にすることで、サイズという単一の変数が生物学的機能にどのような影響を与えるかを検証しました。

実験の結果、最小サイズのナノディスクが一貫して最大の性能を発揮することが明らかになりました。具体的には、以下の点が確認されています。

- 抗体への結合効率が向上し、生物学的標的との相互作用がより迅速に行われる。
- 細菌のアルファ毒素をより効果的に中和する。
- 毒素に曝露させたマウスを用いた試験において、最小サイズのナノディスクが最も高い保護効果を提供した。

また、研究チームはサンディエゴ・スーパーコンピューター・センター（SDSC）のExpanseシステムを用い、NSF ACCESSの割り当てを利用してコンピューターシミュレーションを実施しました。これにより、小型のナノディスクは拡散速度が速く、同じ材料量であれば粒子数が多くなるため、標的と遭遇し結合する確率が高まるというメカニズムが解明されました。

背景・業界の文脈

細胞ナノディスクは、天然の細胞膜で構成され、生細胞の機能を模倣する粒子として、薬物輸送や解毒、ワクチンなどの分野で治療への応用が期待されてきました。しかし、これまで「サイズが性能にどのように影響するか」という根本的な問いに対する明確な答えは出ていませんでした。本研究は、実験生物学とハイパフォーマンスコンピューティング（HPC）を組み合わせることで、直接観察が困難な生物学的メカニズムを明らかにしました。

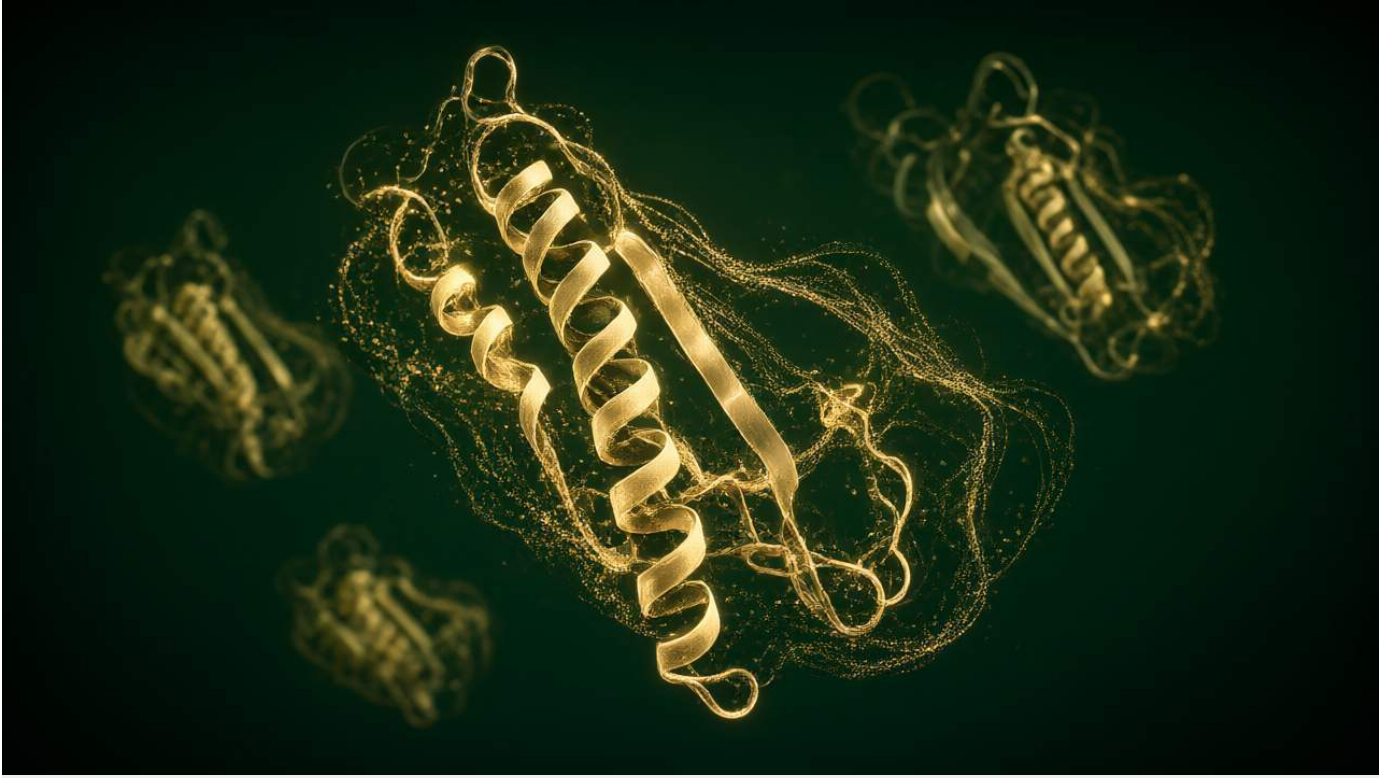
今後の展望

本研究は、試行錯誤的な実験だけに頼らず、シミュレーションモデルを用いて治療材料の挙動を事前に予測し、実験で検証するという計算生物学のアプローチの重要性を強調しています。粒子サイズが性能の根本的な駆動要因であることを特定したことで、次世代の膜ベース治療薬の設計に向けた実用的なブループリントが提供されました。今後は、薬物輸送や毒素中和をはじめとする様々なバイオ医学アプリケーションにおいて、ナノテクノロジーの最適化と、より安全で効果的な治療法の開発が進むと考えられます。

元記事: <https://www.technologynetworks.com/drug-discovery/news/smaller-nanodiscs-show-greater-potential-for-drug-delivery-417594>

#08 RFD4-Proteinaとは | NvidiaとUWが開発したオープンソース蛋白質設計AIの性能

公開日 2026年10月22日 Genetic Engineering & Biotechnology News アメリカ



概要

Nvidiaとワシントン大学（UW）蛋白質設計研究所（IPD）が、特定の機能を持つ蛋白質を設計するためのオープンソース生成AIモデル「RFD4-Proteina」を公開した。本モデルは従来のモデルと比較して、設計成功率が5～10倍向上し、生成速度も5～10倍高速化したという。これにより、疾患プロセスの遮断や診断テスト、環境浄化などの分野で、新薬候補や酵素の開発期間を大幅に短縮することが可能になる。

詳細

主要成果

Nvidiaとワシントン大学（UW）の蛋白質設計研究所（IPD）は、バイオ分子の推論を用いたオープンな生成AIモデル「RFD4-Proteina」を開発した。このモデルは、蛋白質の配列と構造を、相互作用する分子の構造と同時に最適化できるため、一方の変更が他方へ効率的に反映される仕組みを持つ。ベンチマークテストの結果、蛋白質結合、小分子結合、酵素スキヤフォールディング、DNA結合の4つの評価セットにおいて、従来のベースラインを上回る計算設計成功率と生成スループットを達成した。開発者によれば、設計成功率は5～10倍に向上し、生成速度も5～10倍に高速化したという。

技術・詳細

RFD4-Proteinaは、Nvidiaの化学・生物学向けAIプラットフォーム「NVIDIA BioNeMo」をベースにしており、プログラム可能な蛋白質設計と検索機能を組み合わせている。具体的には、IPDのガイド付き拡散モデル「RosettaFold Diffusion」と、Nvidiaの蛋白質・小分子ターゲット向けバインダー設計モデル「Proteina-Complexa」から派生している。また、Proteina-Complexaは、原子レベルの蛋白質設計向けAIモデル「La-Proteina」に基づいた事前学習済みフローベース生成モデルと、推論時の最適化を組み合わせで構築されている。

このモデルの有用性は、実際の研究現場でも報告されている。UWの博士課程候補生であるMeg Lunn-Halbert氏は、免疫系認識に重要な糖鎖（グリカン）の付着を精密に制御することができ、従来は数ヶ月かかっていた作業を1週間未満で完了できたと述べている。また、別の候補生であるSeth Woodbury氏は、数日で従来比で大幅に性能が向上した農薬分解酵素を設計できたとしている。

背景・業界の文脈

本プロジェクトは、2024年ノーベル化学賞を受賞したデビッド・ベイカー教授（IPD所長）らの主導により、BSD-3ライセンスのオープンソースとして提供される。開発資金は、ビル&メリンダ・ゲイツ財団（2025年11月付の助成金で25,748,619ドルを拠出）をはじめ、ハワード・ヒューズ医学研究所、グランサム財団、シュミット・サイエンスなどの支援を受けている。また、ジェン・スンおよびロリ・ファン財団からの計算リソースの提供が開発に不可欠であったという。

今後の展望

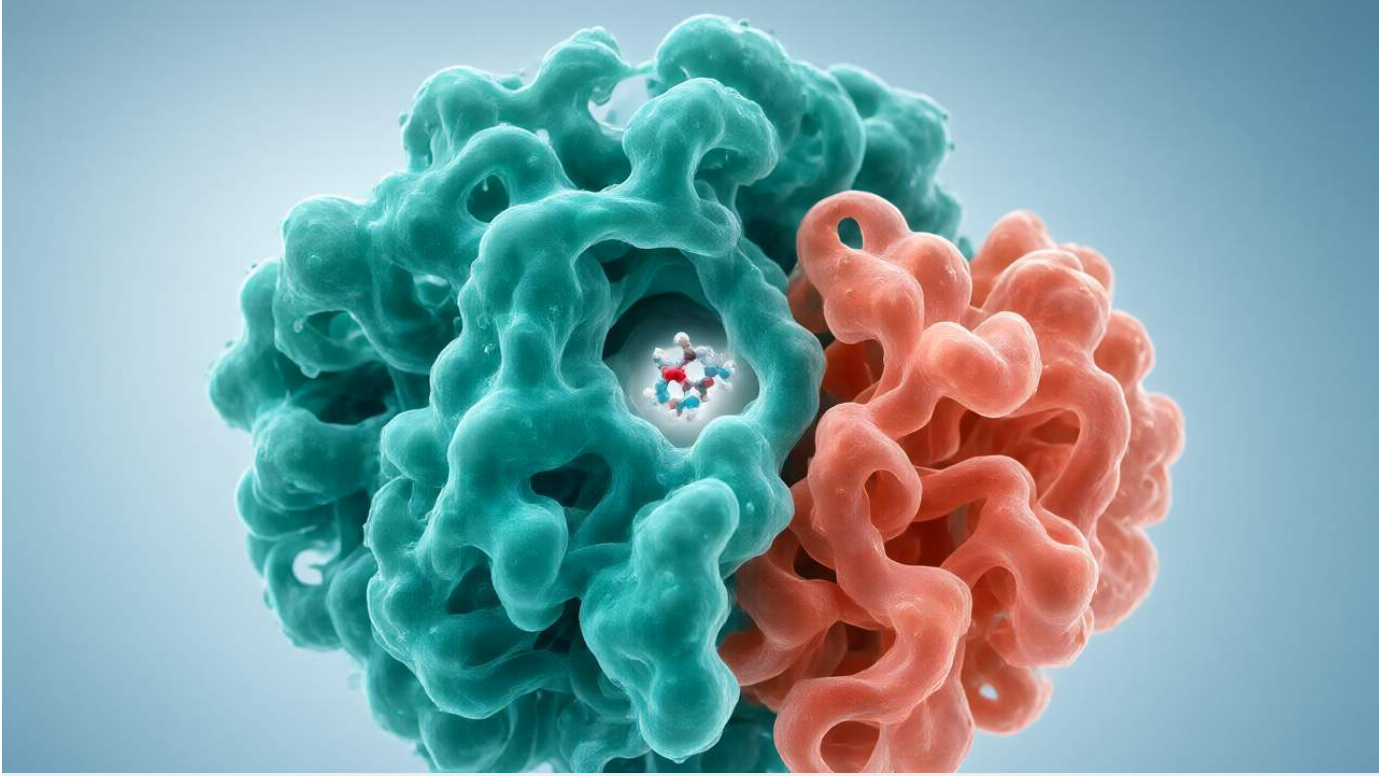
RFD4-Proteina は、Amazon Bio Discovery、Anthropic の Claude Science、Google Cloud、Hugging Face、OpenAIなどのパートナーを通じて提供され、クラウドや科学計算ワークフローへの統合が進む。ベイカー教授は、自然界に存在する蛋白質の発見から、完全に新しい蛋白質を設計する時代へ移行したと指摘している。今後は、新薬開発の加速だけでなく、プラスチック分解酵素やバイオプラスチックの製造など、医療以外の持続可能性や材料科学の分野への応用が期待されている。

元記事: <https://www.genengnews.com/topics/artificial-intelligence/nvidia-uw-institute-for-protein-design-unveil-open-source-protein-design-ai-model/>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#09 AlphaFold 3 | 創薬における信頼性スコアの有用性とBANDOCK+との性能比較

公開日 2026年10月22日 bioRxiv



概要

AlphaFold 3 (AF3) の信頼性スコアが、マルチスケール創薬においてどの程度有用であるかを検証した研究結果が公開されました。承認済み薬剤とヒトタンパク質ライブラリを用いたベンチマークにおいて、AF3のipTMは1,103個のタンパク質比較で、疾患ランキングスコアにおいてBANDOCK+をわずかに上回る性能を示しました。一方で、計算コストとスケーラビリティの面ではBANDOCK+に分があり、より広範なタンパク質カバー率を実現しています。予測性能と計算効率のトレードオフを明確にしたことで、計算創薬における適切な手法選択の指針となります。

主要成果

AlphaFold 3 (AF3) によるタンパク質・リガンド複合体の予測において、その信頼性スコアが創薬プロセスにどの程度寄与するかを検証した結果、AF3のipTM (interface predicted TM-score) は、実験的知見に基づいたアプローチであるBANDOCK+と比較して、特定の条件下で高い性能を示すことが明らかになりました。具体的には、1,103個のタンパク質を用いた比較において、AF3は疾患ランキングスコアでBANDOCK+をわずかに上回る結果を記録しました。ただし、この性能は個別の適応症によって変動することが確認されています。

技術・詳細

本研究では、承認済み薬剤およびヒトタンパク質ライブラリを用い、AF3のインタラクションスコアとBANDOCK+の性能をベンチマークしています。検証の結果、予測の精度面ではAF3に利点があるものの、計算リソースの消費量とスケーラビリティにおいては大きな差が出ました。BANDOCK+は、AF3よりも計算負荷が低いアプローチであり、20,158個のタンパク質リファレンスライブラリを使用することで、AF3よりも大幅に広いタンパク質カバー率を実現しています。

背景・業界の文脈

タンパク質とリガンド（タンパク質に結合する低分子化合物など）の複合体構造を正確に予測することは、効率的な創薬において不可欠です。AF3のようなAIベースの予測モデルは高い精度が期待されていますが、その出力される「信頼性スコア」を実際の創薬ワークフローでどのように活用すべきか、また、膨大な数のタンパク質を対象とする際にどれほどの計算コストがかかるかという実用上の課題がありました。

今後の展望

今回のベンチマーク結果は、計算創薬における「予測性能」と「スケーラビリティ（拡張性）」のトレードオフを浮き彫りにしました。高精度な予測が必要なケースではAF3の信頼性スコアが有用である一方、大規模なライブラリを高速に処理する必要があるケースでは、BANDOCK+のような計算負荷の低い手法が依然として有効です。今後は、これらの手法を目的や規模に応じて使い分けることで、より効率的なマルチスケール創薬の実現が期待されます。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.19.757941v2>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#10 Cereblon | Cys287を標的としたアロステリック阻害によるタンパク質分解制御

公開日 2026年10月15日 bioRxiv アメリカ



概要

Cereblon (CRBN) の隠れたアロステリックポケットにあるCys287を標的とする、新たな共有結合性阻害剤が同定されました。リード化合物VVD-105917は、CRBNを不活性な「オープン」構造に固定することで、IMiDやCELMoDによるネオ基質分解を汎用的に阻害します。これにより、従来の一箇所に集中していた薬剤設計のアプローチを広げ、E3リガーゼの構造スイッチを制御する新たな戦略が提示されました。

主要成果

研究チームは、システイン標的のケモプロテオミクス・スクリーニングを用い、Cereblon (CRBN) の正統的 (オルソステリック) サイトから離れた位置にある、隠れたアロステリックポケットのCys287に結合する共有結合性リガンドを同定しました。特にリード化合物であるVVD-105917は、IMiD (免疫調節薬) およびCELMoD (標的タンパク質分解誘導剤) によって駆動されるネオ基質の分解を阻害するパン・インヒビターとして機能することが明らかになりました。

技術・詳細

クライオ電子顕微鏡 (Cryo-EM) による構造解析の結果、VVD-105917がCys287に共有結合することで、CRBNが不活性な「オープン」コンフォメーション (構造) にトラップされることが判明しました。この構造解析により、これまで観察されていなかったN末端セグメントとセンサーループの挙動が解明されました。

また、リガンドを添加する順番を変えた連続インキュベーション実験において、構造的な結果が添加順に依存することが示されました。これは、強力なCELMoDによって誘導される構造の「閉鎖」であっても、アロステリックな結合によって上書き (オーバーライド) され、不活性状態へ導けることを意味しています。一方で、同じCys287ポケットに結合する別のリガンドでは、閉鎖をブロックするのではなく逆に促進するという正反対の効果は報告されており、この部位がメカニズム的に「サイン・スイッチ (切り替え)」可能であることが示唆されました。

背景・業界の文脈

サリドマイド誘導体のCRBNモジュレーターは、CRL4-CRBN E3ユビキチンリガーゼを誘導して疾患の原因となるネオ基質を分解させる、臨床的に非常に影響力の大きい標的タンパク質分解 (TPD) 治療薬です。しかし、現在利用可能なすべてのCRBN標的IMiDおよびCELMoDは、単一のオルソステリックポケットに結合しており、CRBNが持つ多様な構造的景観 (コンフォメーション・ランドスケープ) の大部分が、薬理的に活用されないままとなっていました。

今後の展望

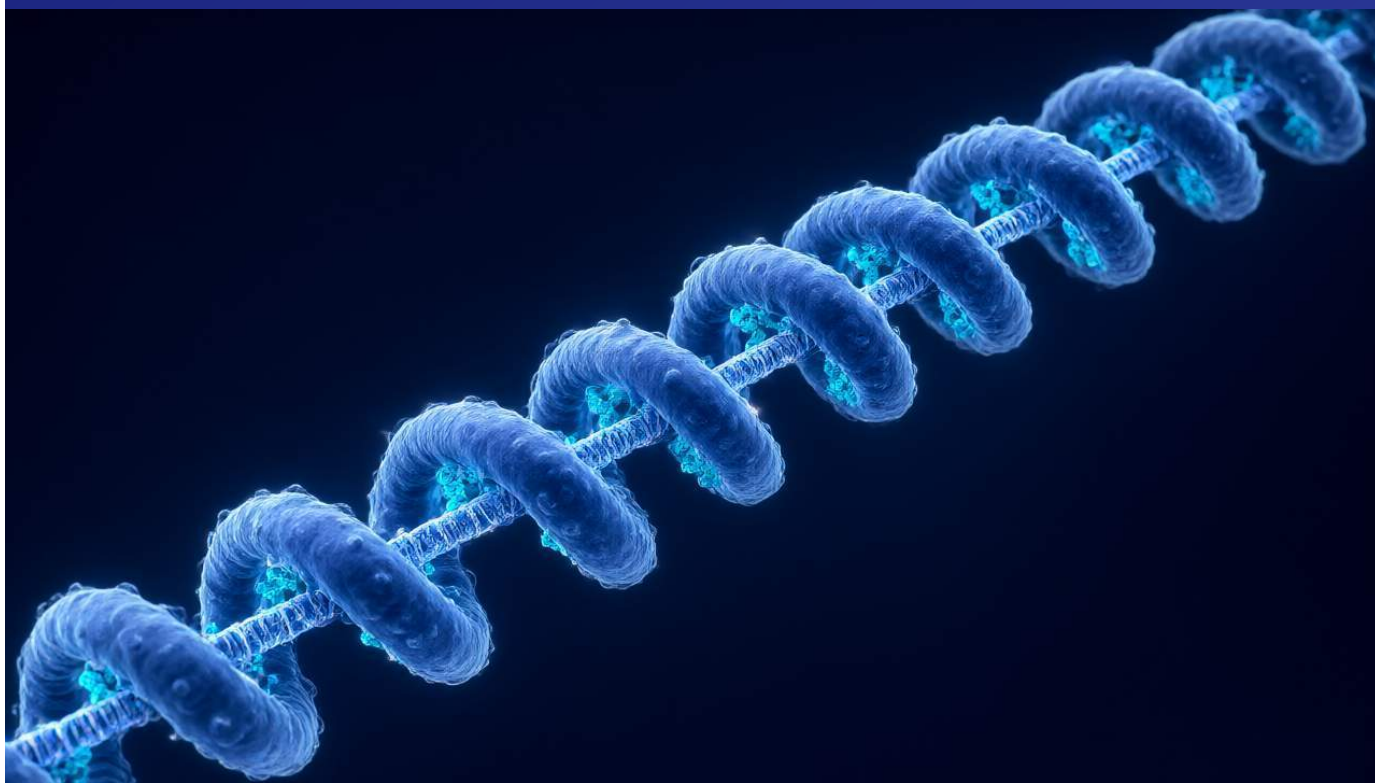
今回の発見は、共有結合ケモプロテオミクスが、E3リガーゼの構造スイッチを発見し、それを制御するための有効な戦略になることを証明しました。特定のアロステリックサイトを標的とすることで、従来の正統的サイトを標的とする薬剤とは異なる機序でタンパク質分解を制御できる可能性が開かれました。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.10.758245v1>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#11 MA2 | MDA5を標的とする初の分子接着剤、免疫活性化のメカニズムと性能

公開日 2026年10月20日 bioRxiv アメリカ



概要

初の選択的MDA5アゴニスト（作動薬）として、分子接着剤（molecular glue）として機能する化合物「MA2」が報告されました。MA2はMDA5フィラメント内の隠れたポケットに結合し、構造変化を許容しながら相互作用を強化することで、ATP加水分解を抑制し免疫応答を増強します。これにより、抗ウイルス活性の向上や、化学療法剤およびナチュラルキラー（NK）細胞との相乗効果による腫瘍細胞の殺傷促進が可能になります。

詳細

主要成果

研究チームは、細胞質内のdsRNAセンサーであるMDA5を選択的に活性化する、ファーストインクラス分子接着剤「MA2」を開発しました。MA2は、既存のMDA5フィラメントを増強することで、抗ウイルス活性を高めるだけでなく、化学療法剤やナチュラルキラー（NK）細胞と併用することで腫瘍細胞の殺傷を促進する相乗効果を示すことが明らかになりました。

技術・詳細

MA2は、MDA5フィラメント内のプロトマー間にある「隠れたポケット（cryptic pocket）」に結合します。この領域はATPaseに伴う構造的な再編（コンフォメーション変化）が起こる可塑性の高いインターフェースです。MA2の最大の特徴は、インターフェースを硬直的に固定するのではなく、構造的な遷移を許容しながら結合し続ける点にあります。

具体的な作用機序は以下の通りです。

- MDA5とdsRNAの結合、およびプロトマー間の相互作用を強化する。
- ATP加水分解を減衰させる。
- 新たなフィラメントの組み立てを誘導するのではなく、既に存在するフィラメントを増強（potentiate）させる。

この特性により、dsRNAが豊富に存在する細胞においてのみ活性化が起こるという、コンテキスト依存的な制御が可能になっています。

背景・業界の文脈

自然免疫シグナルは、制御不能な活性化が自己炎症性疾患を引き起こす一方で、適切に制御された活性化は抗ウイルス免疫や抗腫瘍免疫を強化するという「諸刃の剣」のような性質を持っています。MDA5はタイプIインターフェロンシグナルを活性化させるセンサーとして、免疫病理と防御免疫の両方に関与していますが、これまでこれを制御する低分子モジュレーターの発見は困難とされてきました。

今後の展望

今回の発見は、これまで「ドラッグابل（創薬可能）」ではないと考えられていた、構造的に可塑性の高いインターフェースを標的とする戦略として、「ダイナミック分子接着剤」という手法を確立した点に大きな意義があります。このアプローチは、MDA5以外の同様の構造を持つタンパク質標的に対しても応用できる可能性があります。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.14.759171v1>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#12 cGAS R241EとIL-12TM | mRNA LNPによる全身性腫瘍制御のメカニズムと性能

公開日 2026年10月16日 bioRxiv アメリカ



概要

自己活性化型cGAS変異体と膜結合型IL-12をmRNA LNPで共届出することで、全身性の腫瘍制御を促進する手法が開発されました。cGAS R241EによるSTINGシグナルの活性化と、IL-12TMによるT細胞機能の強化を組み合わせることで、遠隔地の腫瘍を抑制することに成功しています。この戦略は、局所治療では困難であった転移性疾患への全身性免疫の誘導を可能にする臨床的に転用可能なアプローチとなります。

詳細

主要成果

mRNA脂質ナノ粒子（LNP）プラットフォームを用いて、自己活性化型cGAS変異体（cGAS R241E）と膜結合型IL-12（IL-12TM）を共届出することで、全身性の腫瘍制御を促進することが示されました。この手法は、複数のマウスモデルにおいて遠隔地の腫瘍を抑制し、全身的な抗腫瘍免疫を誘発することに成功しています。また、本アプローチはPD-L1阻害剤に対する反応性を高める相乗効果も確認されました。

技術・詳細

本技術は、先天免疫のセンシングとT細胞の活性化をin situ（局所）で調整することを目的としています。具体的なメカニズムは以下の通りです。

- **cGAS R241E mRNA LNP**： 体内で自律的にサイクリックGMP-AMP（cGAMP）を生成し、ホストのSTINGシグナルを活性化させることで、抗腫瘍応答を開始させます。
- **IL-12TM mRNA LNP**： 局所的なサイトカイン産生を促進し、制御性T細胞（Treg）を減少させるとともに、腫瘍浸潤T細胞のエフェクター機能を回復させます。

研究の結果、この治療効果の発現には、ホストにおけるCD8+ T細胞およびIFN- γ シグナリングが必要であることが判明しました。これにより、先天的なDNAセンシングがIL-12によるT細胞の機能強化と結合して作用するというモデルが支持されました。

背景・業界の文脈

従来、局所的な腫瘍治療は、転移性疾患を制御できるほどの全身性免疫を誘導することが困難であるという課題がありました。本研究では、cGAS-STING経路という先天免疫の活性化と、サイトカインによるT細胞のプログラミングを統合することで、この限界を突破しようとしています。特に、mRNA LNPを用いることで、特定の変異体や膜結合型タンパク質を効率的に標的部位へ届けることが可能となりました。

今後の展望

本研究で確立された戦略は、cGAS-STING活性化とサイトカイン駆動のT細胞制御を統合したものであり、臨床的に転用可能な戦略であると結論付けられています。今後は、この全身的な腫瘍制御メカニズムをヒトの臨床試験に応用し、転移性がんに対する新たな治療選択肢としての有効性を検証することが期待されます。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.15.759215v1>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#13 KRAS変異体標的RNAi | LNPを用いた大腸がん治療と5-FU併用療法の有効性

公開日 2026年10月16日 bioRxiv



概要

脂質ナノ粒子（LNP）を用いたRNA干渉（RNAi）戦略により、大腸がんの主要なドライバーであるKRAS変異体（G12D, G12V, G13D）を標的とした治療法が開発されました。単一のsiRNA配列を用いてこれら3つの変異体の発現を抑制し、細胞増殖や遊走を抑制することに成功しています。さらに、化学療法剤5-FUとの併用により相乗的な抗腫瘍効果が得られることが示されました。これにより、これまで治療薬が限られていたKRAS変異大腸がんに対する新たな治療アプローチが提示されています。

詳細

主要成果

研究チームは、脂質ナノ粒子（LNP）を用いて、大腸がん（CRC）において治療抵抗性の原因となるKRAS変異体（G12D、G12V、G13D）を標的とするRNA干渉（RNAi）戦略を開発しました。単一の小分子干渉RNA（siRNA）配列を用いたsiRNA-LNPsを投与したところ、KRAS変異を持つHCT116（G13D）、SW620（G12V）、LS180（G12D）の各細胞株において、KRASのmRNAおよびタンパク質の発現が減少しました。一方で、KRAS野生型のHT29細胞ではこれらの減少は見られず、変異体に特異的な抑制効果が確認されました。この結果、がん細胞の増殖、コロニー形成能、および遊走が抑制されました。

技術・詳細

本手法では、LNPをデリバリーシステムとして活用し、siRNAを効率的に細胞内へ届けることでKRASのノックダウンを実現しています。トランスクリプトーム解析の結果、siRNAによるサイレンシングは、細胞周期およびDNA修復プログラムを含むKRAS関連シグナルの抑制を引き起こすことが明らかになりました。このメカニズムに基づき、研究チームはフルオロピリミジン系化学療法剤である5-フルオロウラシル（5-FU）との併用療法を検討しました。その結果、3つのKRAS変異大腸がん細胞モデルすべてにおいて相乗的な効果が認められ、単層培養および3Dスフェロイドの両方でアポトーシス（細胞死）が促進されました。

背景・業界の文脈

KRAS変異は、大腸がんにおける主要な発がんドライバーであり、多くの症例で治療抵抗性と関連しています。現在、KRAS阻害剤として承認されている薬剤はG12Cサブタイプに集中しており、本研究が標的としたG12D、G12V、G13Dといった普及率の高い変異体に対しては、承認された標的療法が存在していません。このような状況下で、複数の変異体を単一のsiRNAでカバーし、さらに既存の化学療法剤との相乗効果を導き出した点は、臨床上の大きな課題に対するアプローチとなります。

今後の展望

本研究は、LNPを用いたRNAi戦略と5-FUの併用が、KRAS変異大腸がんに対する有効な治療戦略となり得ることを概念実証（proof of concept）しました。今後は、この組み合わせ戦略を潜在的な治療法として確立させるため、さらなる詳細な調査と検証が進められることが期待されます。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.15.759489v1>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#14 脂質ナノ粒子（LNP） | 鳥類胚への高効率な遺伝子編集と表現型生成の手法

公開日 2026年10月19日 bioRxiv アメリカ



概要

鳥類胚において、脂質ナノ粒子（LNP）を用いた高効率な遺伝子導入およびゲノム編集を実現するプラットフォームが構築されました。ニワトリ胚の頭蓋神経堤細胞

（NCCs）を標的とした実験では、RUNX2遺伝子の編集により頭蓋顔面骨格の骨化が著しく消失・破壊されることが確認されています。これにより、従来の導入手法で課題だった胚の生存率低下や効率の不安定さを解消し、迅速な機能解析が可能になります。

主要成果

研究チームは、鳥類胚における遺伝子発現操作の再現可能な代替手段として、脂質ナノ粒子（LNP）を介したデリバリープラットフォームを確立しました。この手法を用いることで、高い生存率を維持しながら、プラスミドDNAおよびRNAカーゴを効率的に導入することに成功しています。特に、骨形成に不可欠なRunt-related transcription factor 2（RUNX2）を標的としたRNAベースのCRISPR/Cas9によるゲノム編集では、標的側の頭蓋顔面骨格において骨化の深刻な喪失と破壊が確認され、in vivoでの迅速な遺伝子機能解析の可能性が実証されました。

技術・詳細

本研究ではニワトリ（*Gallus gallus*）の胚を用い、頭蓋顔面骨格に大きく寄与する遊走中の頭蓋神経堤細胞（NCCs）を標的としています。LNPの処方、注入のタイミングおよび頻度を最適化することで、堅牢で適応性の高いパイプラインを構築しました。具体的な技術的成果は以下の通りです。

- **持続的な発現**：LNPデリバリーによってpiggyBacトランスポゾンシステムをサポートし、レポーターの持続的な発現と、頭蓋NCCs由来細胞の長期的なラベル付けを実現しました。
- **ゲノム編集の効率化**：RNAベースのCRISPR/Cas9コンポーネントをLNPで導入することで、効率的な体細胞ゲノム編集を達成しました。
- **種を越えた適用性**：本手法はニワトリだけでなく、国内鳩（*Columba livia*）および北京アヒル（*Anas platyrhynchos*）の胚においてもトランスフェクションが可能であることが示されました。

背景・業界の文脈

鳥類は、受精卵へのアクセスが容易で、孵化前の胚成長のあらゆる段階で直接的な観察や実験操作ができるため、古くから発生生物学のモデルとして利用されてきました。しかし、従来の機能遺伝学研究では、主にin ovoエレクトロポレーション（胚内電気穿孔法）やウイルス導入に依存していました。これらの手法には、導入効率のばらつき、処置に起因する胚の欠損、高い胚死亡率、そしてCRISPR/Cas9のような遺伝子編集試薬の導入効率が不十分であるといった課題がありました。

今後の展望

今回確立されたLNPデリバリープラットフォームは、種を問わず鳥類全般に展開可能なベクトルプラットフォームとして機能します。これにより、発生学、疾患研究、そして進化生物学の分野において、より高効率かつ低侵襲な遺伝子操作が可能になると期待されます。

元記事: <https://www.biorxiv.org/content/10.64898/2026.10.13.753869v1>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#15 Arrowhead | 血液脳関門突破技術の性能 | tauタンパク質低減効果とBiogen比較

公開日 2026年10月15日 BioSpace アメリカ



概要

Arrowhead Pharmaceuticalsが開発中のsiRNA候補薬「ARO-MAPT」が、健康な被験者を対象とした初期試験において、脳脊髄液（CSF）中のtauタンパク質レベルを大幅に減少させた。投与量に応じて40%から最大85%の減少率を記録し、皮下投与で血液脳関門（BBB）を突破する同社のプラットフォームの有効性が示された。この結果は、脊髄へ直接投与する競合技術よりも高い効果を持つ可能性があり、アルツハイマー病治療における競争力を高めるものとして注目されている。

詳細

主要成果

Arrowhead Pharmaceuticalsが開発している遺伝子サイレンサー（siRNA候補薬）「ARO-MAPT」が、健康な被験者を対象とした第1/2a相試験において、脳脊髄液（CSF）中のtauタンパク質レベルを顕著に減少させた。Stifelのアナリストは、この結果が他の血液脳関門（BBB）突破プラットフォームを上回る効果を示しており、「説得力がある」と評価している。

技術・詳細

本試験では、皮下投与による中枢神経系への標的アプローチが検証された。投与量ごとのCSF tau減少率（105日目時点）は以下の通りである。

- 低用量（2.1-mg/kgを1、8、15日目に投与）：平均40%減少
- 中用量（6.4-mg/kgを1、8、15日目に投与）：平均69%減少
- 高用量（12.8-mg/kgを1、15日目に投与）：平均73%減少（最大減少率は85%に到達）

安全性に関しては、ARO-MAPTは「概ね良好に耐容された」と報告されており、有害事象の多くは軽度であった。毒性による脱落者や死亡、深刻な副作用は確認されていない。

背景・業界の文脈

tauタンパク質の蓄積はアルツハイマー病などの神経変性疾患に関与しており、tauをコードするMAPT遺伝子の発現を抑制する治療法が開発されている。競合するBiogen社のアンチセンス核酸（ASO）製剤「diranersen（BII080）」は、脊髄への直接投与が必要な薬剤である。diranersenの第1b相試験（軽度アルツハイマー病患者46名対象）では、最終投与から8週間後に30%～49%の減少、24週間後には最大56%の減少が報告されていた。

Stifelのアナリストは、皮下投与で済むARO-MAPTのノックダウン効果が、脊髄投与のdiranersenよりも優れている可能性を指摘している。一方でJefferiesは、試験対象集団や投与強度が異なるため、直接的な比較には慎重な姿勢を示している。なお、Biogenは第2相CELIA試験において認知・機能面での主要目標を達成できなかったが、tau病理の強力な減少を確認したとして、登録開発への移行を決定している。

今後の展望

ARO-MAPTの第1/2a相試験は現在も被験者を募集しており、健康な被験者に続き、初期アルツハイマー病患者を含む計112名の参加を目標としている。追加のデータは来年発表される予定である。また、Arrowheadは規制当局と協議し、MAPT関連の前頭側頭型認知症および進行性核上性麻痺への適応拡大に向けた試験の準備を進めている。

元記事: <https://www.biospace.com/drug-development/arrowheads-blood-brain-barrier-tech-is-arguably-better-than-others-analysts-say-after-data-drop>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#16 IDE849 | DLL3標的ADCのSCLCおよびNECにおける有効性と生存期間データ

公開日 2026年10月23日 PR Newswire (IDEAYA Biosciences) アメリカ



概要

IDEAYA Biosciencesが、DLL3標的の抗体薬物複合体（ADC）であるIDE849（SHR-4849）の第1相試験における更新データを発表した。再発小細胞肺癌（SCLC）の2次治療において、中央値17.4ヶ月の全生存期間（OS）という有望な結果を示している。本剤はTOP1阻害剤をペイロードとして持ち、脳転移例や他の神経内分泌癌（NEC）に対しても高い抗腫瘍活性を確認した。これにより、未充足の医療ニーズが高いSCLCおよびNECにおける新たな治療選択肢となる可能性がある。

主要成果

IDEAYA BiosciencesとJiangsu Hengrui Pharmaceuticalsが共同開発するIDE849（SHR-4849）の第1相試験において、再発小細胞肺癌（SCLC）および神経内分泌癌（NEC）に対する有望な抗腫瘍活性と予備的な全生存期間（OS）の結果が示されました。特に2次治療（2L）のSCLC患者（n=51）におけるOS中央値は17.4ヶ月に達し、2Lおよび3次治療以降（ $\geq 3L$ ）を合わせたSCLC患者（n=101）ではOS中央値が14.7ヶ月となりました。

技術・詳細

IDE849は、delta-like ligand 3（DLL3）を標的とし、トポイソメラーゼI（TOP1）阻害剤をペイロードとして搭載したADCです。ESMO 2026で発表された詳細データ（投与量1.8 mg/kg以上、3週間間隔投与）は以下の通りです。

- **SCLC（2L）**：客観的奏効率（ORR）72.5%（37/51）、確認済みORR（cORR）60.8%（31/51）、無増悪生存期間（PFS）中央値6.9ヶ月。
- **SCLC（2L + $\geq 3L$ ）**：ORR 68.3%（69/101）、cORR 54.5%（55/101）、PFS中央値6.8ヶ月。
- **脳転移を有するSCLC**：cORR 65.4%（17/26）であり、全26例で病勢コントロールが観察された。
- **その他のNEC**：ORR 52.6%（10/19）、cORR 36.8%（7/19）、PFS中央値7.0ヶ月、9ヶ月OS率は82.4%を記録した。

安全性に関しては、2.4 mg/kgの拡大コホートにおけるグレード3以上の治療関連有害事象（TRAE）の発現率は33.3%でした。試験全体（n=122）での治療中止率は2.5%、グレード3以上の間質性肺疾患（ILD）の発現率は0.8%でした。また、別のグローバル試験（2.4 mg/kgおよび3.5 mg/kg）では、グレード3以上のTRAE率はそれぞれ5%（1/20）と22.2%（4/18）となっています。

背景・業界の文脈

SCLCおよびNECは、治療選択肢が少なく、極めて高い未充足の医療ニーズが存在する領域です。特に胃腸膵神経内分泌癌（GEP-NEC）や大細胞神経内分泌癌（LC-NEC）などのNECサブタイプではDLL3が高発現していることが報告されています。市場規模の推計では、中国を除くグローバルな転移性GEP-NECの年間発症数は約40,000人、LC-NECは約30,000人とされており、主要市場である米国、EU5、日本においては、それぞれ約7,000人と8,000人と予測されています。

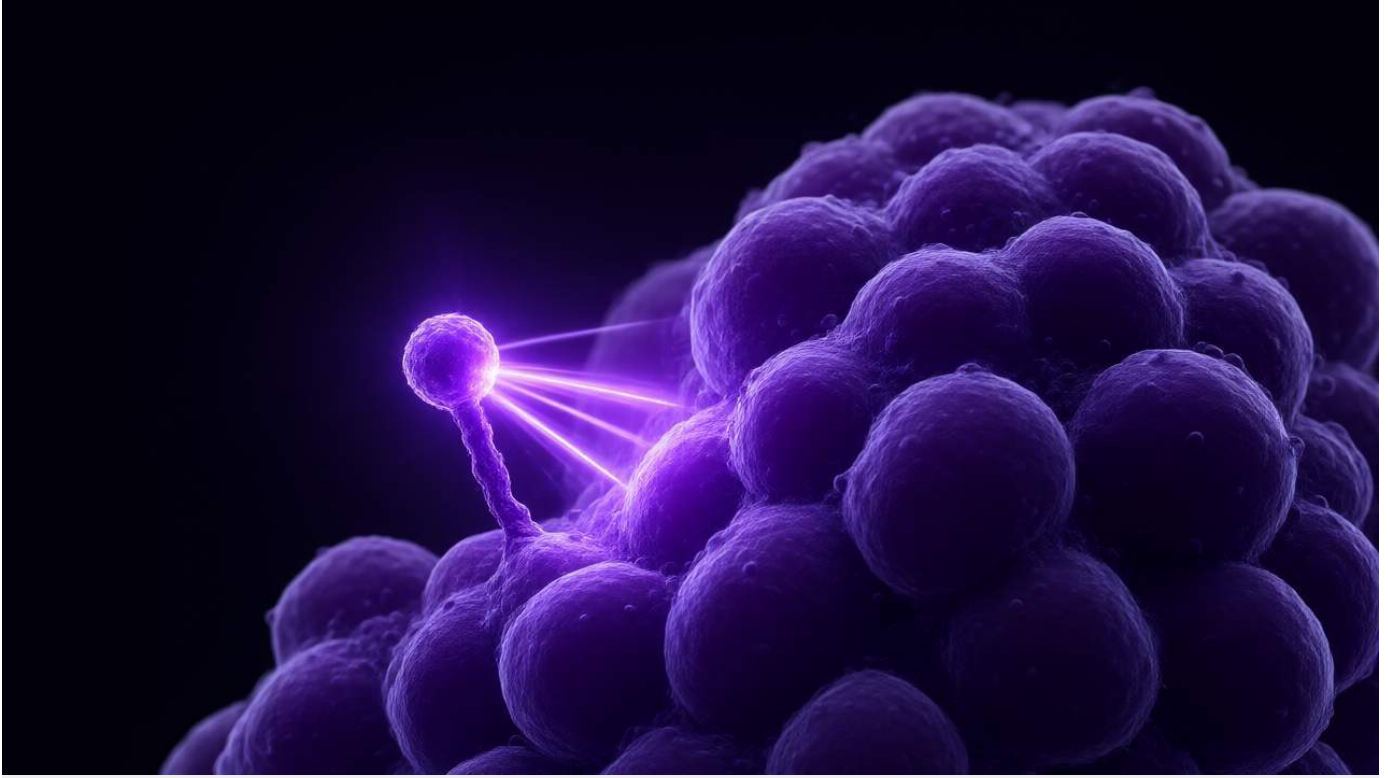
今後の展望

IDEAYAは米国FDAとのType Cミーティングを経て、広範なSCLC（ES-SCLC）およびNECを対象とした2つの第3相登録試験の開始を目指しています。また、複数の併用療法のデータ生成を継続しながら、1次治療（1L）のES-SCLCにおける第3相試験のデザインについても検討を進めています。今後は、Imdelltra投与後のSCLCや再発NECを含むグローバル臨床試験の有効性と安全性に関する更新データの提供が予定されています。

元記事: <https://www.prnewswire.com/news-releases/ide849-shr-4849-dll3-top1-adc-updated-phase-1-results-at-esmo-2026-demonstrates-promising-anti-tumor-activity-and-preliminary-overall-survival-results-in-relapsed-small-cell-lung-cancer-and-neuroendocrine-carcinomas-302917466.html>

#17 [225 Ac]Ac-FL-020 | mCRPC治療薬の安全性とPSA低下率、Phase 1結果

公開日 2026年10月23日 PR Newswire (Full-Life Technologies) アメリカ



概要

Full-Life Technologies社が開発中のPSMA標的アルファ線放射性医薬品[225 Ac]Ac-FL-020について、転移性去勢抵抗性前立腺がん（mCRPC）患者を対象としたPhase 1試験の速報値が発表された。ルテチウム-177（Lu-177）未治療患者の100%がPSA50を達成し、Lu-177治療後に進行した患者においても有効性が示された。本剤はLu-177治療に抵抗性を持つ患者への新たな治療選択肢となる可能性がある。

詳細

主要成果

Full-Life Technologies社が開発中の[225 Ac]Ac-FL-020は、mCRPC患者を対象としたPhase 1用量漸増試験において、有望な治療指数とPSA（前立腺特異抗原）の低下を示した。投与量6～8 MBqにおいて、Lu-177未治療患者では100%がPSA50（ベースラインから50%以上の低下）を達成し、PSA80は88.9%、PSA90は66.7%に達した。また、Lu-177治療経験のある患者においても、PSA50を75%、PSA80を62.5%、PSA90を25%が達成した。

特筆すべき点として、過去のLu-177治療で病勢進行（Progressive Disease）であった患者において、[225 Ac]Ac-FL-020を2サイクル投与したところ、PSMA-PET画像で完全奏効（Complete Response）が1例観察された。

技術・詳細

[225 Ac]Ac-FL-020は、同社独自のUniRDC™プラットフォームを用いて開発された次世代のPSMA標的アルファ線放射性接合体である。アクチニウム-225（Ac-225）で標識されたPSMA標的ペプチドで構成されており、正常組織からの迅速なクリアランスを維持しつつ、腫瘍への高く持続的な集積を実現するように設計されている。これにより、有効性の向上と差別化された安全性プロファイルの提供を目指している。

安全性に関しては、39名の安全性解析集団において、用量制限毒性（DLT）や薬剤に関連すると考えられる死亡例は報告されていない。副作用として口内乾燥症（Xerostomia）が見られたが、大部分がグレード1であり、グレード3の症例はなかった。また、治療に関連する重篤な有害事象として貧血、悪心、血小板減少症の3例が報告されたが、腎臓や肝胆道系に関する重篤な有害事象は報告されていない。

背景・業界の文脈

mCRPCの治療において、PSMA標的治療は重要な役割を果たすが、既存のLu-177を用いた治療後に病勢が進行した患者への対応は依然として大きな未充足の医療ニーズ（アンメット・ニーズ）となっている。本剤のようなアルファ線放射性医薬品は、ベータ線を用いるLu-177とは異なる特性を持ち、治療抵抗性となった症例への有効性が期待されている。この重要性から、米国食品医薬品局（FDA）は本剤にファストトラック指定を付与している。

今後の展望

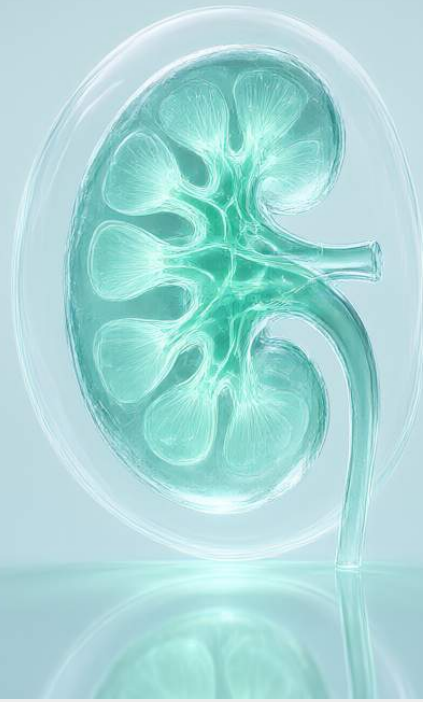
今回のデータカットオフ日（2026年10月9日）時点で、18名の患者に6、7、8 MBqの投与が行われ、安全性のデータに基づき10 MBqまでの用量漸増が支持された。今後は、FDAの放射性医薬品の用量最適化に関する最新のドラフトガイダンスに沿ったPhase 2用量最適化試験が計画されている。この試験では、患者を2つの投与レジメンにランダム化し、最適な投与量とスケジュールの定義、奏効の持続性の評価、およびLu-177治療経験の有無によるリスク・ベネフィットプロファイルのさらなる明確化を行う予定である。

元記事: <https://www.prnewswire.com/news-releases/full-life-technologies-reports-encouraging-preliminary-phase-1-safety-and-psa-decline-for-fl-020-in-mcrpc-at-esmo-2026-302917477.html>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#18 Ultomiris | アストラゼネカのIgA腎症治療薬、FDA承認と蛋白尿減少の効果

公開日 2026年10月22日 pharmaphorum イギリス



概要

アストラゼネカのUltomiris（一般名：ravulizumab）が、希少疾患であるIgA腎症（IgAN）の治療薬として米国食品医薬品局（FDA）から加速承認を受けた。第3相試験「I CAN」において、投与34週時点でプラセボ群に対し蛋白尿を43.4%減少させたことが示されている。これにより、同薬は5つ目の適応症を獲得し、競争が激化するIgAN治療薬市場への参入を果たした。

詳細

主要成果

アストラゼネカのUltomiris（ravulizumab）が、希少疾患であるIgA腎症（IgAN）の治療において、米国食品医薬品局（FDA）より加速承認を取得した。本剤は、進行リスクのあるIgAN患者における蛋白尿（腎機能の指標であり、疾患活動性のサロゲートマーカー）を減少させる目的で承認された。Ultomirisは、米国で承認された初の補体C5阻害薬となる。

技術・詳細

今回の承認の根拠となったのは、第3相試験「I CAN」の結果である。本試験では、初回投与（ローディングドーズ）の後、8週間ごとにC5阻害薬を投与したところ、投与34週時点でプラセボ群と比較して蛋白尿が43.4%減少したことが確認された。

ただし、今回の承認は「加速承認」であるため、アストラゼネカは今後、蛋白尿の改善が実際に腎機能低下の抑制につながることを示す追加データを提供する必要がある。現在、同試験では106週にわたる推定糸球体濾過量（eGFR）の推移を追跡しており、この結果が肯定的であれば、IgANに対する完全なFDA承認につながる見通しである。

背景・業界の文脈

IgA腎症（IgAN）は、抗体が腎臓に蓄積して炎症や瘢痕を引き起こし、潜在的に慢性腎臓病（CKD）に至る希少疾患である。世界的に最も一般的な原発性糸球体腎炎であり、年間100万人あたり25～50例の発生率で、米国では20万人以上の患者が影響を受けていると推定されている。

IgAN治療薬市場は現在、前例のない急増期にある。過去10年間に米国市場に投入された新薬は6つに及び、さらに多くの候補薬が開発パイプラインに存在する。こうした競争環境の中、Ultomirisはすでに発作性夜間ヘモグロビン尿症、非定型溶血性尿毒症症候群（HUS）、全身性重症筋無力症（gMG）、視神経脊髄炎スペクトラム障害（NMOSD）の治療に承認されており、今年上半期の売上高が25.8億ドルに達する同社の主力製品のひとつとなっている。

今後の展望

アストラゼネカは、I CAN試験の中間結果に基づいた申請を日本およびその他の国でも進めており、現在審査が行われている。また、同社は造血幹細胞移植関連血栓性微小血管症（HSCT-TMA）への適応拡大に向けた試験も実施しており、規制当局への申請手続きが進んでいる。

元記事: <https://pharmaphorum.com/news/az-grabs-fda-nod-ultomiris-rare-kidney-disease-igan>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#19 PAK BioSolutions | AAV8連続精製プロセスの性能とフルカプシド濃縮率

公開日 2026年10月22日 PR Newswire (PAK BioSolutions) アメリカ



概要

PAK BioSolutionsとiBETが、アデノ随伴ウイルス8型（AAV8）の統合的な連続精製プロセスの開発に成功した。12時間の連続運転において、最終産物のフルカプシド濃縮率79%を達成し、従来のバッチ処理と同等の品質を維持している。これにより、遺伝子治療薬の商用化に向けたスループットの向上と製造効率の改善が期待される。

詳細

主要成果

PAK BioSolutionsとiBET（Instituto de Biologia Experimental e Tecnológica）による共同研究の結果、PAK PD™プロセス開発スケール連続精製システムを用いたAAV8の統合的な連続精製が可能であることが示された。本プロセスを12時間稼働させたところ、再現性のある安定したサイクル性能を確認し、最終産物プールにおけるフルカプシド濃縮率は79%に達した。これは、従来のバッチ式アニオン交換（AEX）精製で報告されている68～81%という範囲内に収まっており、連続処理においてもバッチ処理と同等の製品品質を維持できることが実証された。

技術・詳細

本研究では、「キャプチャー（回収）」と「ポリッシング（研磨・精製）」の2工程を単一の統合連続プロセスとして構築した。具体的には、AAVXアフィニティキャプチャーとMustang® Qアニオン交換膜ポリッシングを組み合わせ、各工程に2つのカラムを交互に配置する構成を採用している。一方のカラムが負荷（ロード）されている間、もう一方は溶出と再生を行う仕組みである。

PAK社の自動化システムが、カラムの切り替え、キャプチャー溶出液のインライン希釈、およびポリッシング工程への転送を制御することで、両工程の並行運転を実現した。12時間の安定稼働における詳細な性能データは以下の通りである。

- フルカプシド濃縮率：アフィニティキャプチャー後の34%から、最終産物プールでは79%まで向上。
- 回収率：フィードから最終プールまでで、ベクターゲノムの44%を回収。
- 不純物除去：二本鎖DNA（dsDNA）はキャプチャー後に、宿主細胞タンパク質（HCP）はポリッシング後に、それぞれ分析検出限界以下まで低減。

背景・業界の文脈

AAVベクターはin vivo遺伝子治療の主要なプラットフォームであり、承認済みの治療薬や多くの臨床開発プログラムで採用されている。治療の商用化が進み、臨床導入の拡大や投与量の増加に伴い、ダウンストリーム工程（精製工程）への要求は高まっている。製造業者は製品品質を維持しつつ、スループットを向上させる必要がある。

これまでもプロセス強化（Process Intensification）の取り組みはあったが、連続運転は個別の精製ステップに限定されることが多く、一般的には連続キャプチャーとバッチポリッシングを組み合わせで運用していた。本研究は、これら2つの工程を完全に統合した連続プロセスとして実現した点に意義がある。

今後の展望

本研究の著者らは、定義されたプロセス適応を行うことで、カスタム制御の開発や専用のシステムエンジニアリングを必要とせずに、既存のバッチ式AAV精製ワークフローを統合連続フォーマットに変換できると指摘している。PAK BioSolutionsは、すでに抗体（mAb）においてアストラゼネカ社と14日間の完全統合連続ダウンストリーム運転を実施した実績があり、今回の成果でその適用範囲をAAVベクターへと拡大した。同社は、プロセス開発用のPAK PD™から、パイロット・臨床製造用のPAK Pilot™、商用製造用のPAK K-Series™まで、同一技術に基づいたスケールアップ可能なプラットフォームを提供している。

元記事: <https://www.prnewswire.com/news-releases/pak-biosolutions-and-ibet-advance-integrated-continuous-aav8-purification-302917199.html>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#20 Sofusa | リンパ系標的ドラッグデリバリー技術の概要と2027年のFDA申請計画

公開日 2026年10月23日 BioSpace (Business Wire配信) アメリカ



概要

Sofusa Holdingsが独立した臨床段階の企業として再始動し、リンパ管およびリンパ節を精密に標的とするナノテクノロジープラットフォームの開発を推進する。同社のDoseConnect®プラットフォームは、関節リウマチや難治性皮膚リンパ腫の患者において、リンパ系への薬剤投与による治療効果を実証した。これにより、従来の皮下投与よりも少ない投与量で高い治療効果を得られる可能性があり、免疫介在性疾患やがん治療の効率化が期待される。

詳細

主要成果

Sofusa Holdingsは、リンパ系への精密な薬剤送達を可能にする独自のナノテクノロジープラットフォームを開発し、臨床データによる検証を完了した。特に、中等度から重度の関節リウマチ患者10名を対象としたオープンラベル単群Phase 1b試験（NCT04559412）では、皮下投与のエタネルセプト（最大過量50 mg）で改善が見られなかった全患者が、リンパ系投与に切り替え、投与量を半分（25 mg）に減らしたところ、臨床的に意味のある改善を示した。具体的には、圧痛関節の70%減少、DAS28-ESRの34%改善、痛みの62%減少が確認され、投与時の痛みはほとんどなかった（VAS 0-100スケールで5未満）。また、City of Hopeで実施された皮膚T細胞リンパ腫（CTCL）のPhase 1b試験では、従来の治療に反応しなかった進行期の患者3名のうち2名が、ペムブロリズマブのリンパ系投与に反応した。

技術・詳細

同社のDoseConnect®プラットフォームは、ナノトポグラフィー（ナノ構造）を施したマイクロニードルを用いて、生物学的製剤を皮膚内から直接リンパ系へ吸収させる技術である。前臨床のバイオディストリビューション（生体内分布）研究では、従来の皮下投与と比較して、主要な免疫標的が存在するリンパ節において最大80倍の高い薬剤濃度を達成し、同時にオフターゲット臓器への濃度を低減させた。このプラットフォームは、すでに承認済みの生物学的医薬品と組み合わせて使用できるため、開発期間の短縮とコスト削減が可能となる。さらに、リンパ節での濃度上昇により投与量を抑えられるため、治療アウトカムの向上とコスト低減の両立が期待される。また、二特異性抗体や腫瘍溶解性ウイルス療法などの新しい免疫療法においても、全身毒性の軽減と臨床反応の向上が見込まれる。

背景・業界の文脈

本プラットフォームはもともとKimberly-Clarkで開発され、その後 Sorrento Therapeuticsの下で臨床試験へと進められた。これまでに累計で約1億ドル（100Mドル）以上の投資が行われてきた。リンパ系は体液輸送と適応免疫の中核をなす広範な血管ネットワークであるが、歴史的に観察やアクセスが困難な領域であった。今回、新たな投資家が権利を取得し、独立した企業としてSofusaを立ち上げたことで、この技術を商業的な現実へと導く体制が整った。

今後の展望

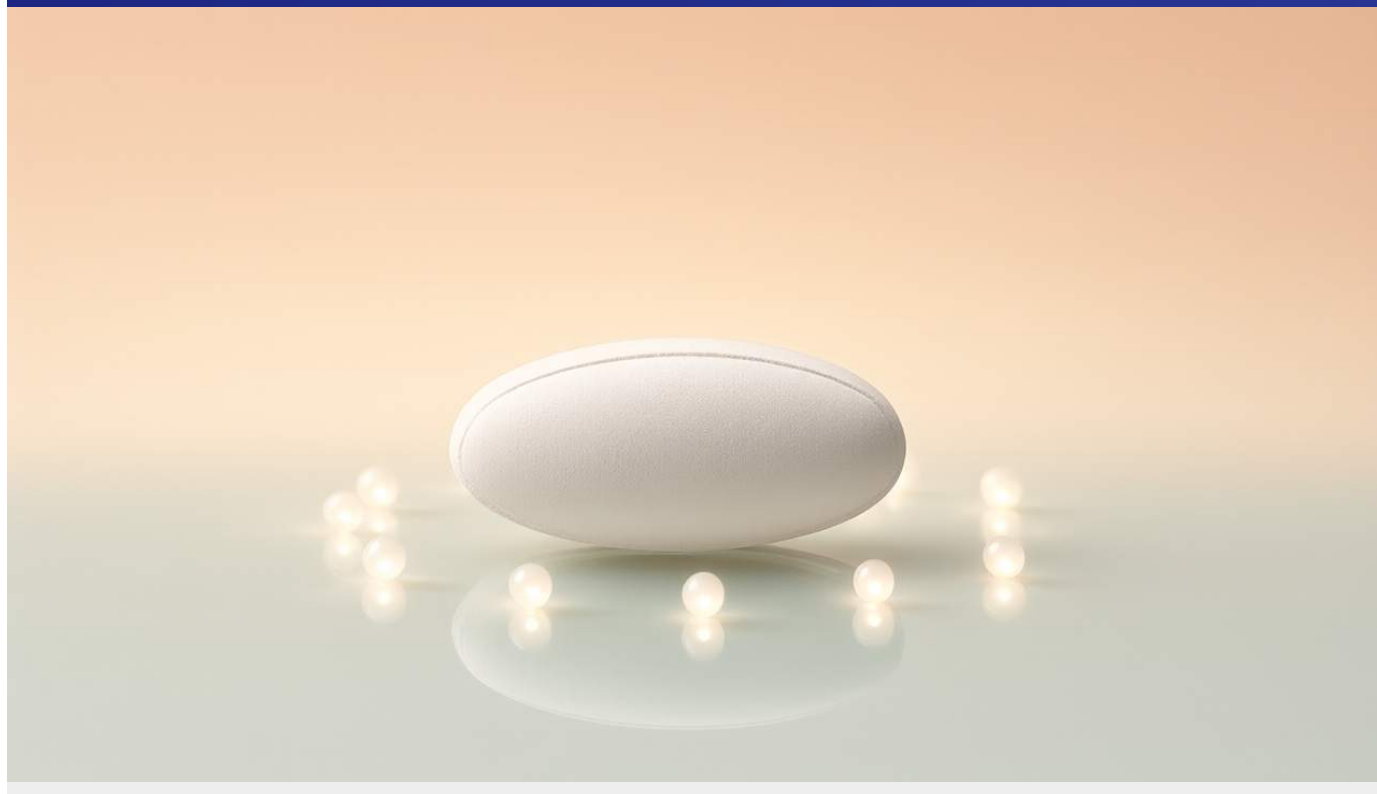
Sofusaは、生物学的療法をリンパ系吸収のために皮膚内に投与するクラスIIデバイスとして、2027年第2四半期に初のFDA（米国食品医薬品局）申請を行う計画である。今後は、自己免疫疾患、がん、およびその他の免疫系疾患に対するコンビネーション生物学的製品のパイプラインを開発する方針だ。また、同社は2026年11月3日から5日にサンディエゴで開催されるMedTech Strategist Innovation Summit San Diego 2026に出展し、CEOのBrian R. Cooleyが11月4日にプレゼンテーションを行う予定である。

元記事: <https://www.biospace.com/press-releases/sofusa-holdings-relaunches-as-independent-company-to-advance-lymphatic-drug-delivery>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#21 Ascletis | 週1回投与の経口肥満治療薬、開発候補薬の性能と米Phase 1進捗

公開日 2026年10月21日 BioPharma APAC 中国



概要

Ascletis Pharmaは、週1回投与が可能な経口ペプチド製剤のパイプラインにおいて、有望な前臨床データを取得した。独自のPOTENT技術により、非ヒト霊長類（NHP）において最大約8.8日の半減期と10%以上の生物学的利用能を実現している。これにより、アミリン、GLP-1、GIP、GCGの4つの標的をカバーする包括的な経口治療薬の提供を目指す。

詳細

主要成果

Ascletis Pharmaは、肥満および代謝性疾患を治療するための週1回投与可能な経口ペプチド製剤において、長い半減期と優れた生物学的利用能（バイオアベイラビリティ）を示す前臨床データを発表した。特に、アミリン受容体ペプチド作動薬である「ASC36o」は、米国でPhase 1試験を開始しており、2026年末までに主要なヒト薬物動態（PK）データが得られる見込みである。非ヒト霊長類（NHP）を用いた定常状態の試験では、ASC36oは最大167時間（約7日）の半減期と、6%から8%の経口生物学的利用能を記録した。また、食事誘発性肥満（DIO）ラットを用いた比較試験では、eloralintideおよびpetrelintideに対し、それぞれ32%および91%高い体重減少効果を示した。

技術・詳細

同社のパイプラインの核心は、独自の「Peptide Oral Transport ENhancement Technology (POTENT)」にある。この技術は、胃と腸の両方からの吸収を促進することで経口生物学的利用能を高め、被験者内および被験者間の変動を低減させる。このプラットフォームにより、NHPにおける定常状態での経口生物学的利用能を10%以上に高め、半減期を最大約8.8日まで延長させることに成功した。

さらに、ASC36oを基盤とした、世界初となる週1回投与の経口ペプチド固定用量配合剤（FDC）を2種類開発している。

- ASC36_37o FDC：アミリン受容体、GLP-1R、GIPR、GCGRの4重作動薬
- ASC36_35o FDC：アミリン受容体、GLP-1R、GIPRの3重作動薬

NHPにおける試験では、単剤よりも配合剤の方が半減期が延長し、ASC36oの半減期は単剤の約7日から、ASC36_35oでは約8.8日、ASC36_37oでは約8.3日まで向上した。また、生物学的利用能も単剤の6%～8%から、両配合剤ともに10%以上に上昇した。

背景・業界の文脈

現在の肥満治療薬市場では、注射剤から利便性の高い経口剤への移行が重要な課題となっている。Ascletisは、アミリン、GLP-1、GIP、GCGという検証済みの4つの標的すべてをカバーする、業界で最も包括的な週1回経口ペプチドパイプラインを構築したと主張している。これには、上述の配合剤のほか、GLP-1/GIP/GCGの3重作動薬「ASC37o」およびGLP-1/GIPの2重作動薬「ASC35o」も含まれる。これにより、経口剤で治療可能な患者層を大幅に拡大できる競争上の優位性を確保したとしている。

今後の展望

同社は、ASC36oのヒトPKデータの取得に加え、2026年第4四半期までに、残る4つの週1回経口ペプチドプログラムについて米国食品医薬品局（FDA）へ新薬臨床試験開始届（IND）を提出する予定である。POTENTプラットフォームによる吸収率の向上と変動の抑制、および独自の配合剤による性能改善を武器に、商業的に実現可能な週1回投与の経口ペプチド治療薬の実用化を目指す。

元記事: <https://biopharmaapac.com/news/31/8582/ascletis-reports-promising-preclinical-data-for-once-weekly-oral-obesity-treatments-advances-us-phase-1-trial.html>

収集日: 2026年10月24日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)