TROY TECHNICAL

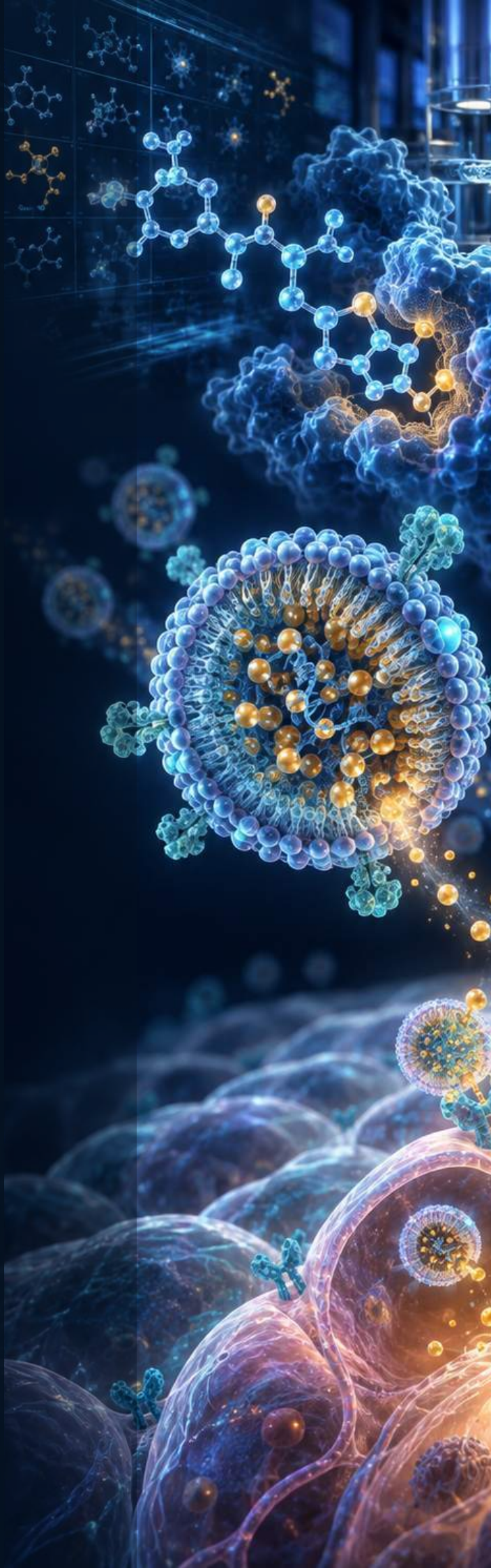
創薬・DDS
ウィークリーレポート

2026年11月8日-11月14日 | Issue 2026-W45

標的証拠、送達、臨床差別化、開発採算

11	10
分析対象	重点テーマ

発行 2026-11-14 | 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11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

ECO Synthesis|CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能

Codexis社は、オリゴヌクレオチド治療薬の製造プラットフォーム「ECO Synthesis」において、100グラム規模での品質維持と製造効率の向上を実証した。100グラムスケールで90%以上の製品品質を達成し、サイクルタイムをほぼ半分に短縮することに成功している。これにより、従来の化学合成に代わる、スケーラブルで高精度な酵素合成によるRNA治療薬製造の実現に近づいた。

シグナル 02 | 送達設計

Durvalumab+EV|シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性

FDAが、シスプラチンベースの化学療法が不適応または拒否した成人の筋層浸潤性膀胱癌(MIBC)患者に対し、DurvalumabとEnfortumab Vedotin(EV)の周術期併用療法の使用を承認した。第3相試験(VOLGA)において、術前投与により死亡リスクが42%低減し、24ヶ月イベントフリー生存率(EFS)は63.5%に達した。本治療法は、術後の補助療法としてDurvalumabを単剤で継続する構成となっており、ADC(抗体薬物複合体)の投与を術前に限定した初の周術期レジメンとなる。

シグナル 03 | 前臨床

Asundexian|初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件

FDAが、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作(TIA)後の再発リスクを低減する初の血液凝固第XIa因子(FXIa)阻害薬「Asundexian(製品名:Sunharbo)」を承認した。第3相試験において、抗血小板療法にAsundexian 50mgを併用した群は、プラセボ群に対し虚血性脳卒中の発生率を6.2%から8.4%へと有意に低下させた。出血リスクを大幅に増やすことなく再発率を抑制できるため、既存治療でリスクが残る患者への新たな治療選択肢となる。

シグナル 04 | 臨床開発

Elebsiran・Tobevibart|慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性

Vir Biotechnology社が、慢性デルタ肝炎(CHD)治療薬であるelebsiranとtobevibartの併用療法について、深いウイルス抑制と持続的な効果を示す第2相SOLSTICE試験の拡大データを発表した。96週まで治療を完了した患者の100%(28/28人)がウイルス検出限界以下に達し、肝硬度(肝炎症・線維化の指標)の改善または安定が確認された。さらに、治療中断後もウイルスが再上昇せず、限定的な期間の治療で完治に至る可能性が示唆されている。

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

90%
A06

数値の条件
Codexis社は、オリゴヌクレオチド治療薬の製造プラットフォーム「ECO Synthesis」において、100グラム規模での品質維持と製造効率の向上を実証した。100グラムスケールで90%以上の製品品質を達成し、サイクルタイムをほぼ半分に短縮することに成功している。これにより、従来の化学合成に代わる、スケーラブルで高精度な酵素合成によるRNA治療薬製造の実現に近づいた。

42%
A04

数値の条件
FDAが、シスプラチンベースの化学療法が不適応または拒否した成人の筋層浸潤性膀胱癌(MIBC)患者に対し、DurvalumabとEnfortumab Vedotin(EV)の周術期併用療法の使用を承認した。第3相試験(VOLGA)において、術前投与により死亡リスクが42%低減し、24ヶ月イベントフリー生存率(EFS)は63.5%に達した。

6.2%
A10

数値の条件
FDAが、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作(TIA)後の再発リスクを低減する初の血液凝固第XIa因子(FXIa)阻害薬「Asundexian(製品名:Sunharbo)」を承認した。第3相試験において、抗血小板療法にAsundexian 50mgを併用した群は、プラセボ群に対し虚血性脳卒中の発生率を6.2%から8.4%へと有意に低下させた。

96週
A11

数値の条件
Vir Biotechnology社が、慢性デルタ肝炎(CHD)治療薬であるelebsiranとtobevibartの併用療法について、深いウイルス抑制と持続的な効果を示す第2相SOLSTICE試験の拡大データを発表した。96週まで治療を完了した患者の100%(28/28人)がウイルス検出限界以下に達し、肝硬度(肝炎症・線維化の指標)の改善または安定が確認された。

100倍
A03

数値の条件
Scribe Therapeutics社が、Cas12eタンパク質とガイドRNAの反復的な分子工学により、高活性かつ高特異的なゲノム編集プラットフォーム「X-Editor(XE)」を開発しました。XEはヒト細胞において編集活性を100倍以上に向上させ、非ヒト霊長類の肝臓への投与試験では、臨床試験段階にあるCas9ベースの治療薬よりも低用量で高い編集効率を達成しています。

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。

1

標的・分子

P01/P06

Codexis社は、オリゴヌクレオチド治療薬の製造プラットフォーム「ECO Synthesis」において、100グラム規模での品質維持と製造効率の向上を実証した。

2

送達設計

P02/P07

FDAが、シスプラチンベースの化学療法が不適応または拒否した成人の筋層浸潤性膀胱癌(MIBC)患者に対し、DurvalumabとEnfortumab Vedotin(EV)の周術期併用療法の使用を承認した。

3

前臨床

P03/P08

FDAが、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作(TIA)後の再発リスクを低減する初の血液凝固第XIa因子(FXIa)阻害薬「Asundexian(製品名:Sunharbo)」を承認した。

4

臨床開発

P04/P09

Vir Biotechnology社が、慢性デルタ肝炎(CHD)治療薬であるelebsiranとtobevibartの併用療法について、深いウイルス抑制と持続的な効果を示す第2相SOLSTICE試験の拡大データを発表した。

5

市場・ポートフォリオ

P05/P10

Scribe Therapeutics社が、Cas12eタンパク質とガイドRNAの反復的な分子工学により、高活性かつ高特異的なゲノム編集プラットフォーム「X-Editor(XE)」を開発しました。

各受渡しで必要な証拠

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



P01	ECO Synthesis|CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能 システム・導入 | 根拠: 量産
P02	Durvalumab+EV|シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P03	Asundexian|初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P04	Elebsiran・Tobevibart|慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P05	X-Editor(XE)|Cas12eを最適化したゲノム編集プラットフォームの性能と特長 システム・導入 | 根拠: 臨床
P06	BTK標的分子接着剤PS-10|分解剤の境界を曖昧にする新設計と性能 事業・制度・供給 | 根拠: 指針
P07	GluePlex|CRBN標的の分子接着剤による三元複合体構造予測の精度と課題 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P08	CTA313|ImvivaBioの他家CAR-T療法、ループスにおける寛解率と免疫リセット性能 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P09	PIVOT|PAM非依存の超小型ゲノム編集エディター、AAV・LNP配送の性能と効率 技術・工程 | 根拠: 統合・事業語なし
P10	tLNP分析法|RNAと抗体を同時定量するSE-HPLC法の性能と手法 事業・制度・供給 | 根拠: 標準

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 ECO Synthesis|CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能

A06 | 標的・分子 | 量産

2026-11-09

FACT

Codexis社は、オリゴヌクレオチド治療薬の製造プラットフォーム「ECO Synthesis」において、100グラム規模での品質維持と製造効率の向上を実証した。100グラムスケールで90%以上の製品品質を達成し、サイクルタイムをほぼ半分に短縮することに成功している。これにより、従来の化学合成に代わる、スケーラブルで高精度な酵素合成によるRNA治療薬製造の実現に近づいた。

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 Durvalumab+EV|シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性

A04 | 送達設計 | 量産

2026-11-13

FACT

FDAが、シスプラチンベースの化学療法が不適応または拒否した成人の筋層浸潤性膀胱癌(MIBC)患者に対し、DurvalumabとEnfortumab Vedotin(EV)の周術期併用療法の使用を承認した。第3相試験(VOLGA)において、術前投与により死亡リスクが42%低減し、24ヶ月イベントフリー生存率(EFS)は63.5%に達した。本治療法は、術後の補助療法としてDurvalumabを単剤で継続する構成となっており、ADC(抗体薬物複合体)の投与を術前に限定した初の周術期レジメンとなる。

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 5/5 | 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 Asundexian|初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件

A10 | 前臨床 | 量産

2026-11-09

FACT

FDAが、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作(TIA)後の再発リスクを低減する初の血液凝固第XIa因子(FXIa)阻害薬「Asundexian(製品名:Sunharbo)」を承認した。第3相試験において、抗血小板療法にAsundexian 50mgを併用した群は、プラセボ群に対し虚血性脳卒中の発生率を6.2%から8.4%へと有意に低下させた。出血リスクを大幅に増やすことなく再発率を抑制できるため、既存治療でリスクが残る患者への新たな治療選択肢となる。

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 Elebsiran・Tobevibart|慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性

A11 | 臨床開発 | 共同評価

2026-11-08

FACT

Vir Biotechnology社が、慢性デルタ肝炎(CHD)治療薬であるelebsiranとtobevibartの併用療法について、深いウイルス抑制と持続的な効果を示す第2相SOLSTICE試験の拡大データを発表した。96週まで治療を完了した患者の100%(28/28人)がウイルス検出限界以下に達し、肝硬度(肝炎症・線維化の指標)の改善または安定が確認された。さらに、治療中断後もウイルスが再上昇せず、限定的な期間の治療で完治に至る可能性が示唆されている。

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 X-Editor(XE)|Cas12eを最適化したゲノム編集プラットフォームの性能と特長

A03 | 市場・ポートフォリオ | 共同評価

2026-11-12

FACT

Scribe Therapeutics社が、Cas12eタンパク質とガイドRNAの反復的な分子工学により、高活性かつ高特異的なゲノム編集プラットフォーム「X-Editor(XE)」を開発しました。XEはヒト細胞において編集活性を100倍以上に向上させ、非ヒト霊長類の肝臓への投与試験では、臨床試験段階にあるCas9ベースの治療薬よりも低用量で高い編集効率を達成しています。この成果は、低用量での投与とオフターゲットリスクの低減を両立させる次世代の遺伝子治療の基盤となるものです。

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 18/25 | 成熟度 3/5 | 判断場所: システム・導入

P06 BTK標的分子接着剤PS-10|分解剤の境界を曖昧にする新設計と性能

A07 | 標的・分子 | 試作

先行発表 2026-11-06

FACT

BTK(ブルトン型チロシンキナーゼ)を標的とする初の分子接着剤「PS-10」が発見・特性評価されました。PS-10はキナーゼ自体への結合親和性がほとんどないにもかかわらず、DC 50が1桁ナノモーラー範囲、D maxが95%を超える高い分解効率を実現しています。この成果は、あらかじめ固定されたデグロンがなくても、標的タンパク質の構造的可塑性を利用して効率的な分解が可能であることを示しており、合理的な分子接着剤設計の新たな指針となります。

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 18/25 | 成熟度 2/5 | 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 GluePlex|CRBN標的の分子接着剤による三元複合体構造予測の精度と課題

A08 | 送達設計 | 研究

2026-11-11

FACT

分子接着剤(Molecular glue)によるCRBN-neosubstrate三元複合体の構造予測を改善する手法「GluePlex」が開発されました。新規の標的ペアにおいて、従来のBoltz-2単体では39回中12回だった成功率を、GluePlexでは23回まで向上させ、DockQの中央値を0.01から0.43まで改善しています。これにより、経験的な手法に頼っていた分子接着剤の設計を、合理的な設計へと転換させる道が開かれます。

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 18/25 | 成熟度 1/5 | 判断場所: 技術・工程

P08 CTA313|ImvivaBioの他家CAR-T療法、ループスにおける寛解率と免疫リセット性能

A09 | 前臨床 | 試作

2026-11-11

FACT

ImvivaBio社が開発する他家CAR-T細胞療法「CTA313」が、全身性エリテマトーデス(SLE)およびループス腎炎(LN)において、持続的な寛解と免疫系のリセットを誘導した。12ヶ月の追跡調査において、非腎性SLE患者のDORIS寛解率は88%に達し、B細胞の深い枯渇後の再構成が確認された。CD19とBCMAの二重標的アプローチが、単一標的よりも優れた寛解成果をもたらす可能性が示されている。

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 2/5 | 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。

P09 PIVOT|PAM非依存の超小型ゲノム編集エディター、AAV・LNP配送の性能と効率

A02 | 臨床開発 | 試作

2026-11-09

FACT

PAM配列の制約を受けない超小型ゲノム編集エディター「PIVOT」が開発されました。哺乳類細胞においてSpRYに匹敵する編集活性と高い特異性を実現し、マウスの肝細胞におけるPCSK9ノックアウトでは血中PCSK9を約82%、血清LDL-Cを約47%減少させています。これにより、AAV(アデノ随伴ウイルス)およびLNP(脂質ナノ粒子)を用いた効率的なin vivoゲノム編集が可能になります。

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 tLNP分析法|RNAと抗体を同時定量するSE-HPLC法の性能と手法

A01 | 市場・ポートフォリオ | 試作

2026-11-09

FACT

標的型脂質ナノ粒子(tLNP)に含まれる全RNA、結合抗体、および遊離抗体を同時に定量できるオンライン分解SE-HPLC法が開発されました。わずか5 µLのサンプル量で、スパイク回収率88-122%、相対標準偏差5%未満という高い精度と線形応答を実現しています。これにより、tLNPの特性評価における分析上の課題が解消され、標準的なHPLC装置での効率的な品質評価が可能になります。

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 2/5 | 判断場所: 事業・制度・供給

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	tLNP分析法|RNAと抗体を同時定量するSE-HPLC法の性能と手法	https://doi.org/10.64898/2026.11.06.764440
A02	PIVOT|PAM非依存の超小型ゲノム編集エディター、AAV・LNP配送の性能と効率	https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11118113/v1
A03	X-Editor(XE)|Cas12eを最適化したゲノム編集プラットフォームの性能と特長	https://doi.org/10.64898/2026.11.10.765514
A04	Durvalumab+EV|シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性	https://www.ajmc.com/view/durvalumab-plus-enfortumab-vedotin-before-surgery-cuts-risk-of-death-42-in-cisplatin-ineligible-mibc
A05	CIDEB siRNA|RegeneronのMASLD治療薬、肝脂肪減少率と有効期間	https://markets.ft.com/data/announce/full?dockey=1330-9872883en-3MNI6QMM7DHVQKKI3GI5AB6UVP
A06	ECO Synthesis|CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能	https://markets.businessinsider.com/news/stocks/codexis-advances-eco-synthesis-toward-adoption-readiness-with-quality-at-scale-and-expanded-sirna-manufacturing-capabilities-1036736462
A07	BTK標的分子接着剤PS-10|分解剤の境界を曖昧にする新設計と性能	https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11296825/v1
A08	GluePlex|CRBN標的の分子接着剤による三元複合体構造予測の精度と課題	https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11580478/v1
A09	CTA313|ImvivaBioの他家CAR-T療法、ループスにおける寛解率と免疫リセット性能	https://finance.yahoo.com/healthcare/articles/imvivabio-presents-longer-term-data-130000771.html
A10	Asundexian|初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件	https://www.neurologylive.com/view/fda-approves-asundexian-treatment-secondary-stroke-prevention
A11	Elebsiran・Tobevibart|慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性	https://www.aol.com/articles/vir-biotechnology-announces-expanded-phase-214500000.html

創薬・DDS 採用記事全文集

出力日: 2026-11-15

採用記事数: 11 件

収録記事一覧

#01 tLNP分析法｜RNAと抗体を同時定量するSE-HPLC法の性能と手法

#02 PIVOT｜PAM非依存の超小型ゲノム編集エディター、AAV・LNP配送の性能と効率

#03 X-Editor（XE）｜Cas12eを最適化したゲノム編集プラットフォームの性能と特長

#04 Durvalumab＋EV｜シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性

#05 CIDEB siRNA｜RegeneronのMASLD治療薬、肝脂肪減少率と有効期間

#06 ECO Synthesis｜CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能

#07 BTK標的分子接着剤PS-10｜分解剤の境界を曖昧にする新設計と性能

#08 GluePlex｜CRBN標的の分子接着剤による三元複合体構造予測の精度と課題

#09 CTA313｜ImvivaBioの他家CAR-T療法、ループスにおける寛解率と免疫リセット性能

#10 Asundexian｜初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件

#11 Elebsiran・Tobevibart｜慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性

#01 tLNP分析法｜RNAと抗体を同時定量するSE-HPLC法の性能と手法

公開日 2026年11月09日　bioRxiv　アメリカ



概要

標的型脂質ナノ粒子（tLNP）に含まれる全RNA、結合抗体、および遊離抗体を同時に定量できるオンライン分解SE-HPLC法が開発されました。わずか5 μLのサンプル量で、スパイク回収率88-122%、相対標準偏差5%未満という高い精度と線形応答を実現しています。これにより、tLNPの特性評価における分析上の課題が解消され、標準的なHPLC装置での効率的な品質評価が可能になります。

詳細

主要成果

ModeX Therapeuticsの研究チームは、標的型脂質ナノ粒子（tLNP）から全RNA、結合抗体、および遊離（未結合）抗体を同時に定量できる、オンライン分解サイズ排除高速液体クロマトグラフィー（SE-HPLC）法を開発しました。この手法は、わずか5 μLのtLNPサンプルを用いて、これらの成分を同時に評価できる点が特徴です。分析精度については、評価した濃度範囲において線形応答を示し、スパイク回収率は88-122%、精度は相対標準偏差（RSD）5%未満という高い数値を達成しました。

技術・詳細

本手法の核心は、分析プロセスの中でナノ粒子を分解させる「オンライン分解」にあります。具体的には、サンプル注入後に、十二間作酸ナトリウム（SDS）とイソプロパノールを含む移動相にさらすことでtLNPを崩壊させます。これにより、分析前の煩雑なサンプル処理を最小限に抑えながら、RNA、結合抗体、遊離抗体のクロマトグラフ分離が可能となりました。

検出系には、成分ごとに最適な手法を採用しています。

- 全RNA：UV260検出により定量
- 抗体（結合および遊離）：感度を最大化するため、UV280または固有蛍光検出により定量

精製済みのtLNP製剤に本手法を適用したところ、全RNA量と結合抗体量の同時評価に成功し、同時に精製後の遊離抗体が検出限界以下であることを確認しました。

背景・業界の文脈

tLNPは、治療薬などのペイロードを特定の細胞や組織へ選択的に届ける技術として期待されています。しかし、同一の製剤内に封入されたカーゴ（RNAなど）と、表面に結合した標的リガンド（抗体など）の両方を特性評価することは、分析上の大きな課題となっていました。従来の核酸分析やタンパク質分析では、ナノ粒子による光散乱やマトリックス干渉の影響を受けるほか、結合している抗体と遊離している抗体を明確に区別することが困難であったためです。

今後の展望

本研究で確立されたオンライン分解SE-HPLC法は、標準的なHPLC装置を用いてtLNPの主要な属性を同時に評価できる実用的なマルチアトリビュート分析法となります。全RNA濃度、結合抗体濃度、および遊離抗体濃度を一度に測定できるため、tLNPの製造および品質管理における分析ワークフローの効率化に寄与すると考えられます。

元記事: https://doi.org/10.64898/2026.11.06.764440

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#02 PIVOT｜PAM非依存の超小型ゲノム編集エディター、AAV・LNP配送の性能と効率

公開日 2026年11月09日　Research Square



概要

PAM配列の制約を受けない超小型ゲノム編集エディター「PIVOT」が開発されました。哺乳類細胞においてSpRYに匹敵する編集活性と高い特異性を実現し、マウスの肝細胞におけるPCSK9ノックアウトでは血中PCSK9を約82%、血清LDL-Cを約47%減少させています。これにより、AAV（アデノ随伴ウイルス）およびLNP（脂質ナノ粒子）を用いた効率的なin vivoゲノム編集が可能になります。

詳細

主要成果

研究チームは、PAM（プロトスペーサー隣接モチーフ）に依存せず、極めてコンパクトな設計を持つ新しいゲノム編集エディター「PIVOT（PAM-Independent Versatile and Optimized TIGR-Tas editor）」を開発しました。PIVOTは哺乳類細胞において、既存のSpRYと同等の編集活性と高い特異性を達成しています。in vivoでの実証実験では、単一のAAVベクターを用いてマウスの肝臓でPCSK9をノックアウトさせ、血中のPCSK9濃度を約82%、血清LDL-C（低密度リポタンパク質コレステロール）を約47%減少させるという持続的な効果を確認しました。また、マウス受精卵へのマイクロインジェクションによる効率的な生殖細胞系列の編集にも成功しています。

技術・詳細

本技術は、TIGR-Tas（tandem interspaced guide RNA-Tas）システムをベースとしています。研究チームは、TIGR-ParTasRヌクレアーゼとその対となるtigRNAに対してディープミューテーショナルスキャニング（深層変異走査）を実施し、編集活性を制限している主因が「タンパク質と核酸の弱い結合」および「tigRNA固有の不安定性」にあることを突き止めました。これらの課題を反復的なエンジニアリングによって解決したのがPIVOTです。

さらに、RNAの安定性を高めるために共有結合で環状化したtigRNA「Mobius」を開発しました。このPIVOTとMobiusを組み合わせたエディターは、LNP（脂質ナノ粒子）による配送においても効率的な動作をサポートします。これにより、AAVとLNPという2つの主要な配送手段の両方に対応した、コンパクトなゲノム編集ツールの構築を実現しました。

背景・業界の文脈

治療目的のRNAガイド型ゲノム編集において、「広範なゲノム領域へのアクセス（PAM制約の解消）」と「効率的な配送（小型化）」の両立は極めて困難な課題でした。従来のヌクレアーゼでは、これら2つの特性を同時に満たすものは稀でした。TIGR-Tasシステムは、そのコンパクトさとPAM非依存性から有望な代替案とされてきましたが、これまでは編集活性が低いことが実用上の大きなボトルネックとなっていました。

今後の展望

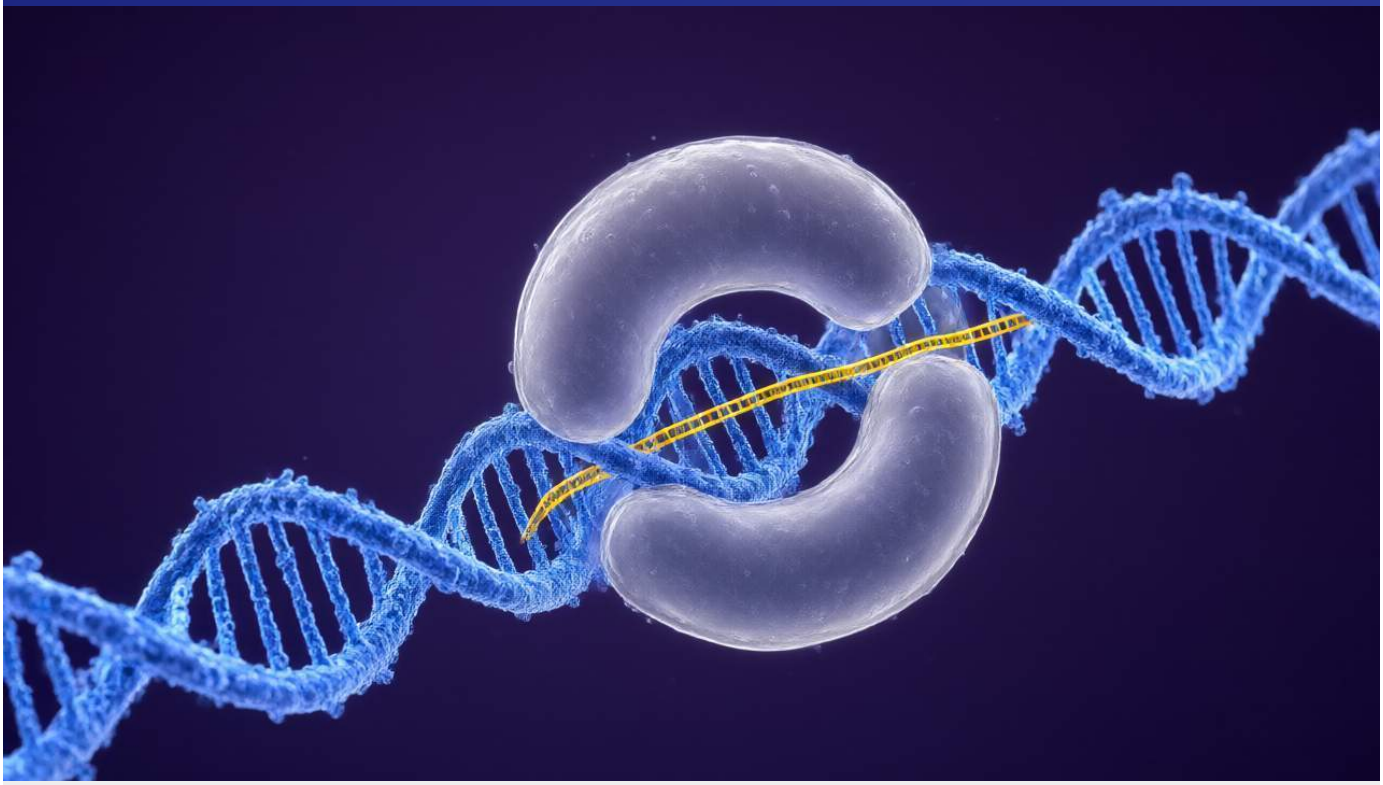
PIVOTの登場により、配送ベクターの容量制限という物理的な制約を回避しつつ、ゲノム上のほぼ任意の場所を標的とした効率的なin vivo編集が可能になります。特に、AAVやLNPを用いた肝臓などの臓器へのアプローチにおいて、高い編集効率と特異性を維持したまま治療を適用できる可能性が広がりました。

元記事: https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11118113/v1

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#03 X-Editor（XE）｜Cas12eを最適化したゲノム編集プラットフォームの性能と特長

公開日 2026年11月12日　bioRxiv　アメリカ



概要

Scribe Therapeutics社が、Cas12eタンパク質とガイドRNAの反復的な分子工学により、高活性かつ高特異的なゲノム編集プラットフォーム「X-Editor（XE）」を開発しました。XEはヒト細胞において編集活性を100倍以上に向上させ、非ヒト霊長類の肝臓への投与試験では、臨床試験段階にあるCas9ベースの治療薬よりも低用量で高い編集効率を達成しています。この成果は、低用量での投与とオフターゲットリスクの低減を両立させる次世代の遺伝子治療の基盤となるものです。

詳細

主要成果

Scribe Therapeutics社は、コンパクトなヌクレアーゼプラットフォームである「X-Editor（XE）」を開発し、in vivo（生体内）での強力な活性と極めて高いゲノム特異性を同時に実現しました。ヒト細胞を用いた試験において、XEは従来のシステムと比較して100倍以上の編集活性を示しました。また、非ヒト霊長類の肝臓に脂質ナノ粒子（LNP）を用いてXE mRNAを投与したところ、2つの異なる標的において、現在臨床試験が進んでいるCas9ベースの治療薬のプレクリニカルデータよりも、低用量で優れた編集効率を達成したとしています。

技術・詳細

XEの開発には、Cas12eタンパク質およびそのガイドRNAに対する反復的な分子工学的手法が用いられました。数万件に及ぶタンパク質バリアントとガイド設計のスクリーニングを行い、有益な変異を反復的にテストし組み合わせることで、最適化を実現しています。また、クライオ電子顕微鏡（Cryo-EM）による解析の結果、機能向上を駆動している新たな分子内および分子間の相互作用が明らかになりました。

特異性の評価については、ヒト初代肝細胞を用い、オンターゲットの有効濃度（EC90）の10倍の用量で試験を実施しましたが、いずれのガイドにおいてもオフターゲット編集は検出されませんでした。このコンパクトなシステムは、アデノ随伴ウイルス（AAV）や脂質ナノ粒子（LNP）によるデリバリー戦略に適した設計となっています。

背景・業界の文脈

CRISPRベースの遺伝子改変は、一度の治療で完治を目指す治療法を可能にしていますが、適応疾患を拡大するためには、低用量での効力向上と、意図しないゲノム改変（オフターゲット作用）の回避が不可欠です。従来のCas9などの微生物由来ヌクレアーゼは、もともとヒト細胞での精密編集ではなく、抗ウイルス防御のために進化したものであるため、大型動物へのin vivoデリバリーにおける課題である「活性」と「特異性」の両立をエンジニアリングで解決することは困難とされてきました。

今後の展望

XEのような、高活性と厳格な特異性を兼ね備えたコンパクトなCRISPRシステムの構築は、投与量の低減とオフターゲットリスクの劇的な軽減を求める高度な遺伝子医薬品の開発に新たな基盤を提供します。これにより、より安全で効率的なin vivoゲノム編集治療の実現が期待されます。

元記事: https://doi.org/10.64898/2026.11.10.765514

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#04 Durvalumab＋EV｜シスプラチン不適応の筋層浸潤性膀胱癌における術前療法の有効性

公開日 2026年11月13日　The American Journal of Managed Care　アメリカ



概要

FDAが、シスプラチンベースの化学療法が不適応または拒否した成人の筋層浸潤性膀胱癌（MIBC）患者に対し、DurvalumabとEnfortumab Vedotin（EV）の周術期併用療法の使用を承認した。第3相試験（VOLGA）において、術前投与により死亡リスクが42%低減し、24ヶ月イベントフリー生存率（EFS）は63.5%に達した。本治療法は、術後の補助療法としてDurvalumabを単剤で継続する構成となっており、ADC（抗体薬物複合体）の投与を術前に限定した初の周術期レジメンとなる。

詳細

主要成果

FDAは、シスプラチン不適応または拒否した筋層浸潤性膀胱癌（MIBC）患者を対象に、術前にDurvalumab（Imfinzi）とEnfortumab Vedotin（EV; Padcev）を併用し、根治的膀胱摘出術後にDurvalumabを単剤で補助療法として投与するレジメンを承認した。第3相試験「VOLGA」の結果、この併用療法は手術単独群と比較して、再発、進行、手術不能、または死亡のリスクを49%低減させ、死亡リスクを42%低減させた。24ヶ月時点の推定イベントフリー生存率（EFS）は63.5%（対照群 45.1%、ハザード比 0.51）、推定全生存率（OS）は78.4%（対照群 69.4%、ハザード比 0.58）であった。また、病理学的完全奏効（pCR）率は45.1%に達し、手術単独の9.6%を大幅に上回った。

技術・詳細

本レジメンでは、術前にDurvalumab 1500 mgとEV 1.25 mg/kgを21日サイクルで3回投与し、その後、膀胱摘出術を行い、術後補助療法としてDurvalumabを4週間ごとに9サイクル投与する。試験に参加した患者の年齢中央値は72歳で、76.1%がクレアチニンクリアランス 60 mL/min未満などの理由でシスプラチン不適応であり、23.9%がシスプラチンを拒否していた。

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Durvalumab-EV群で71.1%（対照群 50.2%）であった。主なEV関連の事象として、皮膚反応（48.7%）とニューロパチー（17.5%）が報告された。一方で、膀胱摘出術の実施率はDurvalumab-EV群で85.0%（対照群 78.6%）と高く、AEによる手術キャンセルは0.9%と低水準であった。また、術後の追加抗がん剤治療が必要となった割合は12.9%であり、対照群の28.4%よりも低かった。

背景・業界の文脈

膀胱癌患者の約4分の1が筋層浸潤性疾患であり、そのうち最大半分が腎機能低下や併存疾患によりシスプラチンを使用できない。これまでこれらの患者にとって根治的膀胱摘出術単独が標準治療であったが、再発率が高く予後は不良であった。近年、シスプラチン適応患者向けにはNIAGARA試験によるDurvalumab＋シスプラチン併用療法が確立され、不適応患者向けにはEVとPembrolizumabの併用療法（KEYNOTE-905/EV-303）などが承認されるなど、治療環境が急速に変化している。

今後の展望

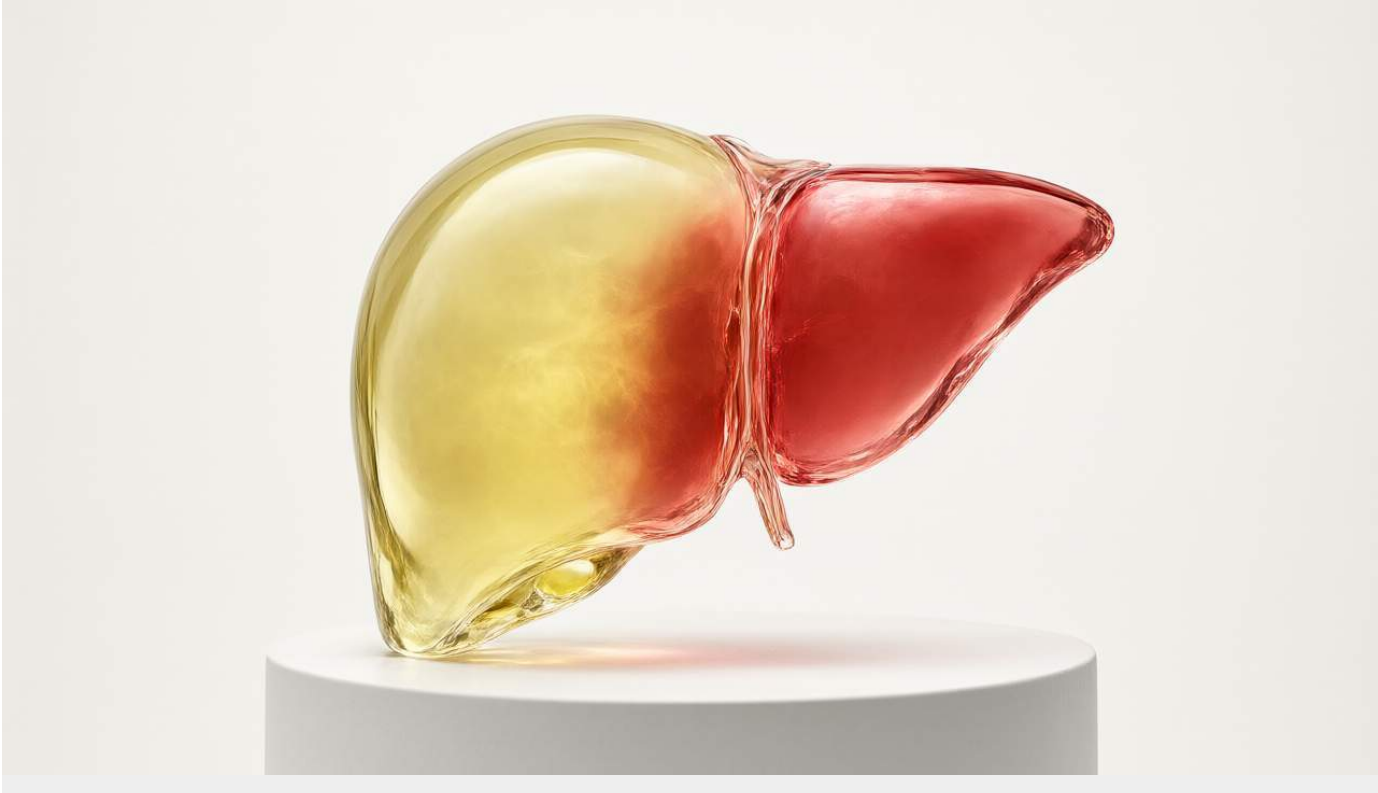
VOLGA試験では、Durvalumab-EVにTremelimumabを加えた3剤併用群も検証された。この群はEFSのエンドポイントを満たした（24ヶ月EFS 60.1%）ものの、OSの改善は見られず、毒性と治療中断の増加が認められた。この結果は、非選択的な患者においてDurvalumab-EV以上の強化療法は収益が減少することを示唆している。本レジメンはADCの投与を術前の3サイクルに限定しており、術後のストレスを考慮した患者中心の新たな標準治療となる可能性がある。

元記事: https://www.ajmc.com/view/durvalumab-plus-enfortumab-vedotin-before-surgery-cuts-risk-of-death-42-in-cisplatin-ineligible-mibc

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#05 CIDEB siRNA｜RegeneronのMASLD治療薬、肝脂肪減少率と有効期間

公開日 2026年11月08日　FT.com（GlobeNewswire / Regeneron Pharmaceuticals）　アメリカ



概要

Regeneron社が開発中のCIDEB siRNAが、MASLD患者において肝脂肪を最大80%減少させ、肝損傷マーカーを改善したことが判明しました。単回投与で36週間にわたり効果が持続し、投与患者の62%で肝脂肪の正常化が確認されています。この結果は、年2回の投与で済む可能性を示唆しており、MASHなどの脂肪性肝疾患における新たな治療選択肢として期待されます。

詳細

主要成果

Regeneron Pharmaceuticals社は、代謝機能障害関連脂肪性肝疾患（MASLD）患者を対象としたCIDEB siRNAの初のヒト試験結果を発表しました。単回皮下投与により、肝脂肪の迅速かつ大幅な減少が確認され、その効果は36週目まで持続しました。具体的には、MRI-PDFF（磁気共鳴画像法プロトン密度脂肪分画）による測定で、6週時点で49-72%、36週時点では58-80%という用量依存的な肝脂肪減少率を記録しました。対照的に、プラセボ群の36週時点での平均減少率は2.9%にとどまっています。

特筆すべきは、CIDEB siRNA投与群の過半数（62%）において、36週時点で肝脂肪含有量が5%未満となる「正常化」が達成された点です。また、組織学的なMASH（代謝機能障害関連脂肪肝炎）の消失に関連するとされる「30%以上の肝脂肪減少」を達成した割合は93%に達しました。さらに、肝損傷マーカーであるALT（アラニンアミノトランスフェラーゼ）の平均値が全用量で低下し、AST（アスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ）についても同様の傾向が36週まで持続しました。

技術・詳細

CIDEB siRNAは、Regeneron Genetics Centerが発見したCIDEB遺伝子の希少な変異による保護効果を模倣するように設計された、ファーストインクラスの肝臓標的型小干渉RNA（siRNA）治療薬です。本試験はフェーズ1/2として実施され、MASLD成人患者を対象に、4つの用量レベル（各群n=30）とプラセボ群（n=10）で安全性と耐容性を評価しました。

安全性に関しては、有害事象の発生率は概ねプラセボ群と同等であり、そのほとんどが軽度または中等度でした。1名の参加者に重篤な高血糖が認められましたが、これは成人発症型1型糖尿病の診断によるものであり、治験薬に起因するものではないと判断されています。また、他の治療薬で課題となる吐き気や嘔吐の報告がなく、試験の中断者も出なかったことが報告されています。

背景・業界の文脈

MASLDは肝臓に過剰な脂肪が蓄積することで起こり、単純な脂肪肝から、炎症や細胞損傷を伴い肝硬変や肝がんへと進行する深刻なMASHまで幅広い病態を含みます。MASHは米国で約1,300万人の成人に影響を与えている疾患です。過去の臨床データでは、現在承認されているMASH治療薬の平均肝脂肪減少率は、約1年で47-57%であったとされており、今回のCIDEB siRNAが示した減少率および持続性は、既存の治療水準を上回る可能性があります。

今後の展望

36週まで効果が持続したというデータは、年2回の投与頻度で治療できる可能性を支持しています。現在、Regeneron社はより長期的な安全性および組織学的アウトカムを評価するため、フェーズ2a、2b、およびフェーズ3の複数の試験において被験者を募集しています。また、同社はヒト遺伝学に基づいた他の脂肪性肝疾患治療薬の候補についても研究を進めています。

元記事: https://markets.ft.com/data/announce/full?dockey=1330-9872883en-3MNI6QMM7DHVQKKI3GI5AB6UVP

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#06 ECO Synthesis｜CodexisのsiRNA酵素合成プラットフォーム、100g規模の量産性能

公開日 2026年11月09日　Markets Insider（GlobeNewswire / Codexis）　アメリカ



概要

Codexis社は、オリゴヌクレオチド治療薬の製造プラットフォーム「ECO Synthesis」において、100グラム規模での品質維持と製造効率の向上を実証した。100グラムスケールで90%以上の製品品質を達成し、サイクルタイムをほぼ半分に短縮することに成功している。これにより、従来の化学合成に代わる、スケーラブルで高精度な酵素合成によるRNA治療薬製造の実現に近づいた。

詳細

主要成果

Codexis社は、TIDES Europe 2026において、同社の酵素合成製造プラットフォーム「ECO Synthesis」の最新データを発表した。特筆すべきは、100グラムスケールでの製造において、製品品質90%以上を維持しながら、サイクルタイムをほぼ半分に短縮するという大幅な効率改善を達成した点である。この性能は、3桁分（3 orders of magnitude）のスケール変動にわたって一貫して維持されることが示された。

技術・詳細

本プラットフォームは、従来の固相有機合成に代わる水溶性酵素プロセスを採用しており、製造のスケールアップと品質管理の両立を目指している。今回の発表では、製造効率の向上に加え、siRNA（小干渉RNA）の設計に最適化した新たな機能が提示された。具体的には、現代のsiRNA治療薬において不可欠な要素である「組織標的部位（tissue-targeting moieties）」の効率的な組み込みが可能となった。

さらに、構造活性相関（SAR）研究の初期データとして、ホスホロチオエート（phosphorothioate）の立体化学を定義したsiRNAの生物学的データも公開された。ヒト肝細胞のin vitroモデルを用いた試験において、ECO Synthesisプラットフォームで製造された物質は、従来の化学的手法で合成された同一のsiRNAと比較して、3〜4倍の効力（potency）を示すことが確認された。

背景・業界の文脈

RNAi（RNA干渉）治療薬の需要が急速に拡大する中、製造プロセスの効率化とコスト削減が業界の課題となっている。従来の化学合成法に対し、Codexisが推進する酵素合成アプローチは、収率の向上、純度の増加、エネルギー消費および廃棄物の削減といったメリットを提供する。また、資本要件を大幅に低減しつつ、製造キャパシティを向上させることが可能であり、結果として製造コストの削減につながると期待されている。

今後の展望

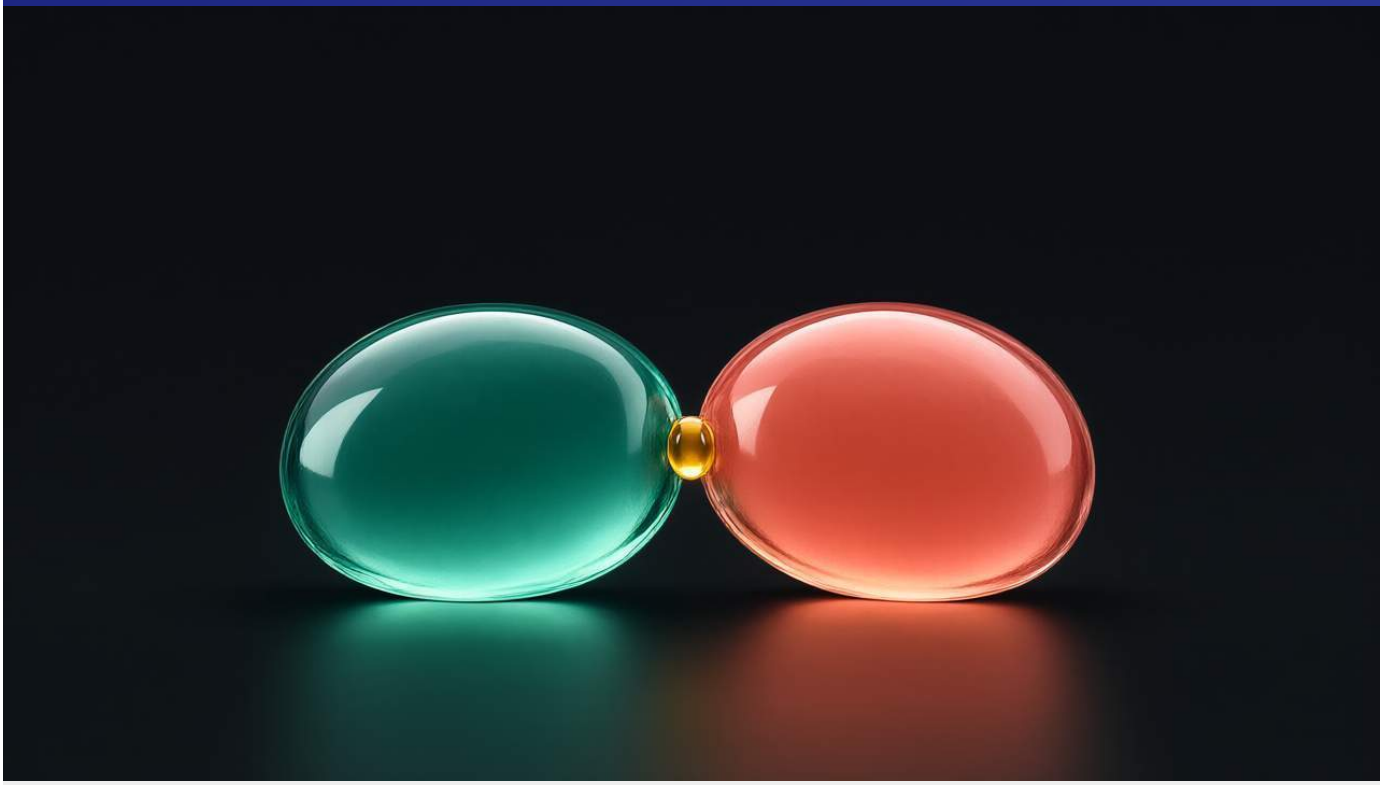
Codexisは、100グラムスケールでの品質と一貫性を証明したことで、ECO Synthesisの産業化に向けた準備が整いつつあるとしている。今後は、標的配送機能の拡張や立体化学の制御といった分子レベルの精度を高めることで、次世代RNA治療薬の設計と性能に製造プロセスから寄与することを目指す。同社は、このプラットフォームをスケーラブルで差別化されたRNA製造の基盤として展開していく方針だ。

元記事: https://markets.businessinsider.com/news/stocks/codexis-advances-eco-synthesis-toward-adoption-readiness-with-quality-at-scale-and-expanded-sirna-manufacturing-capabilities-1036736462

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#07 BTK標的分子接着剤PS-10｜分解剤の境界を曖昧にする新設計と性能

公開日 2026年11月06日　Research Square



概要

BTK（ブルトン型チロシンキナーゼ）を標的とする初の分子接着剤「PS-10」が発見・特性評価されました。PS-10はキナーゼ自体への結合親和性がほとんどないにもかかわらず、DC 50が1桁ナノモーラー範囲、D maxが95%を超える高い分解効率を実現しています。この成果は、あらかじめ固定されたデグロンがなくても、標的タンパク質の構造的可塑性を利用して効率的な分解が可能であることを示しており、合理的な分子接着剤設計の新たな指針となります。

詳細

主要成果

研究チームは、BTKを標的とする初の分子接着剤である「PS-10」を偶然に発見し、その特性を明らかにしました。PS-10は、標的となるキナーゼ自体に対するバイナリー結合親和性が無視できるほど低いにもかかわらず、極めて高い分解能を示します。具体的には、分解濃度の中央値であるDC 50が1桁ナノモーラー（single-digit nanomolar）の範囲にあり、最大分解率であるD maxは95%を超えています。

技術・詳細

クライオ電子顕微鏡（Cryo-EM）および計算モデリングを用いた解析により、PS-10がCRBN（セレブロン）とBTKの間にタンパク質-タンパク質相互作用（PPI）界面を誘導することが判明しました。この界面は、BTKのN-lobeが誘導適合（induced-fit）的に回転することで安定化されており、これまでに知られているCRBN-基質複合体とは異なる広範なPPIを形成しています。

さらに、グローバルプロテオミクスおよび変異マッピングを用いて、他のキナーゼ（CSK、AURKA、LIMK1、TEC）における検証を行った結果、この分解メカニズムはBTKに限定されず、多様なPPI残基に依存していることが実証されました。これにより、生産的なE3リガーゼとネオ基質のPPIは、異なる構造的軌跡を通じて動的に達成され得るという、顕著な構造的可塑性が明らかになりました。

背景・業界の文脈

標的タンパク質分解（TPD）は、細胞内のタンパク質分解系を利用して疾患関連タンパク質を選択的に除去する、急速に進化している治療戦略です。従来の分解剤では、あらかじめ定義された硬い構造のデグロン（分解標識）が必要であると考えられてきました。しかし、本研究で示されたPS-10の挙動は、分解剤のクラス間の境界を曖昧にするものであり、従来の設計思想を覆す成果といえます。

今後の展望

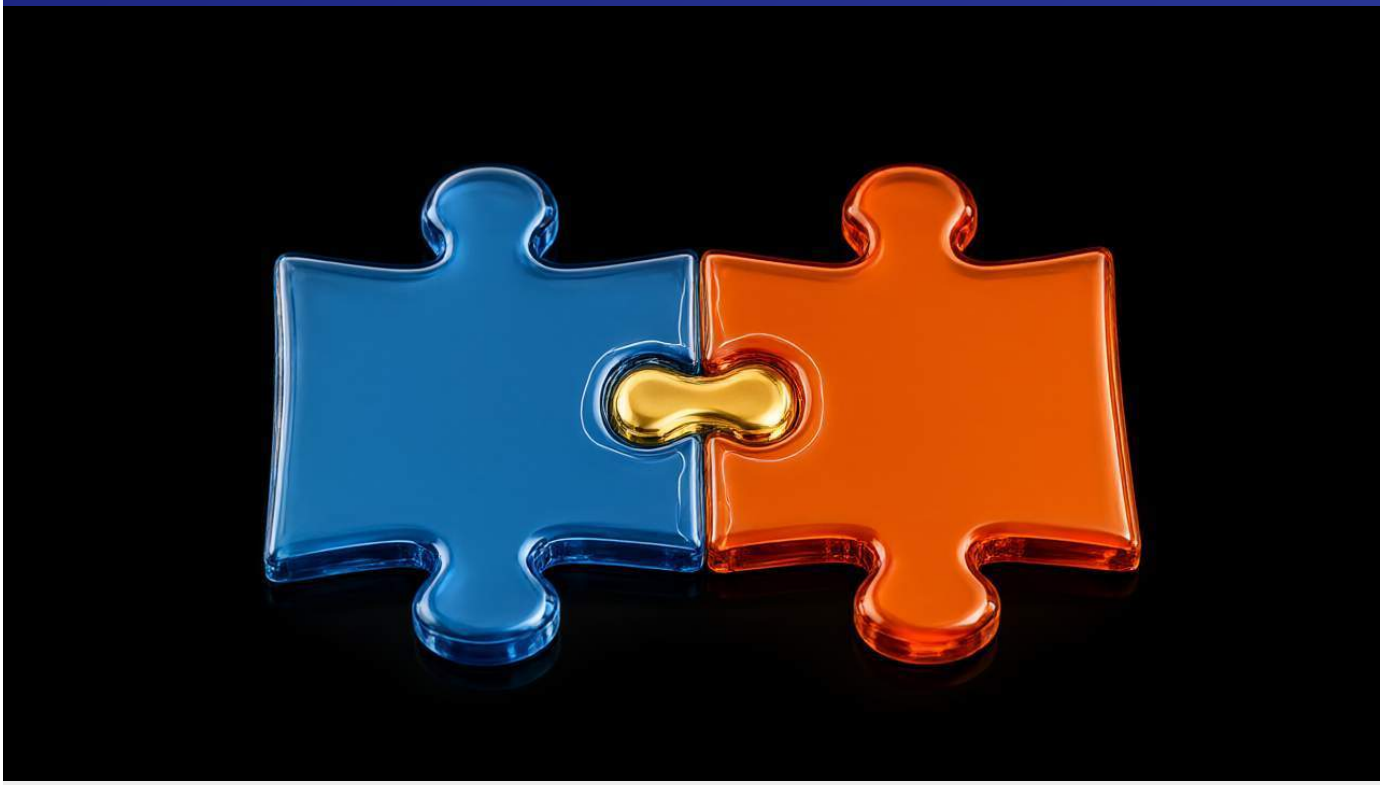
今回の発見は、厳格で既存のデグロンが必須ではないことを証明しました。たとえ標的への結合力が弱い場合であっても、可塑性のあるPPI界面を活用することで協同性を最大化できるという新たな機会を提示しています。これは、合理的な分子接着剤設計における汎用性の高い新しいブループリント（設計図）を確立するものとして期待されます。

元記事: https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11296825/v1

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#08 GluePlex｜CRBN標的の分子接着剤による三元複合体構造予測の精度と課題

公開日 2026年11月11日　Research Square



概要

分子接着剤（Molecular glue）によるCRBN-neosubstrate三元複合体の構造予測を改善する手法「GluePlex」が開発されました。新規の標的ペアにおいて、従来のBoltz-2単体では39回中12回だった成功率を、GluePlexでは23回まで向上させ、DockQの中央値を0.01から0.43まで改善しています。これにより、経験的な手法に頼っていた分子接着剤の設計を、合理的な設計へと転換させる道が開かれます。

詳細

主要成果

研究チームは、分子接着剤によるCRBN（セレブロン）とneosubstrate（新基質）の三元複合体構造を予測するパイプライン「GluePlex」を開発しました。公開済みの三元構造を持つ52組のCRBN標的-化合物ペアを用いて検証したところ、トレーニングセットに含まれない新規の13ペアにおいて、予測精度の顕著な向上が確認されました。具体的には、単純なBoltz-2による共折り畳み（co-folding）では39回の試行中12回しか許容可能なポーズが得られず、タンパク質界面の精度を示すDockQの中央値は0.01にとどまりました。対してGluePlexを用いた場合、成功回数は39回中23回に増加し、DockQの中央値は0.43まで上昇し、そのうち19回でランク1の成功を収めました。

技術・詳細

GluePlexは、以下のステップを組み合わせたワークフローで構成されています。

- リガンドを含まない制約付きタンパク質-タンパク質ドッキング
- テンプレートガイド付きBoltz-2共折り畳みの2回反復処理

アブレーション解析（構成要素を削除・置換して寄与度を調べる手法）の結果、精度の向上は主にドッキングとテンプレート転送によるものであることが判明しました。また、リガンドの切断（truncation）を試行したところ、一部の複合体では回復が見られましたが、他のケースでは悪化するという結果になりました。親モデルの標的-リガンド信頼度を用いることで、切断の恩恵を受けやすいケースの特定が可能になります。

背景・業界の文脈

分子接着剤デグレーダーは、単一の誘導幾何学（induced geometry）を通じて作用します。この幾何学的構造をイン・シリコ（コンピュータ上）で予測できれば、従来の経験的な手法から、合理的な設計への移行が可能になります。しかし、構造的に新しいneosubstrateに対する現在の共折り畳みモデルの性能は不透明であり、精度の向上が急務となっていました。

今後の展望

GluePlexは新規のCRBN三元複合体の予測能力を向上させましたが、依然として課題も残っています。特にリガンドの配置精度に限界があり、CRBN結合部位のウォヘッド（warhead）のRMSD（平方根平均二乗偏差）の中央値が0.7 Åであったのに対し、遠位部位（distal moiety）は2.8 Åと大きく、タンパク質界面が正しくても配置が不正確なままでした。今後は、モデルのランキング手法の改善と、遠位リガンドの配置精度の向上が重要な焦点となります。

元記事: https://doi.org/10.21203/rs.3.rs-11580478/v1

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#09 CTA313｜ImvivaBioの他家CAR-T療法、ループスにおける寛解率と免疫リセット性能

公開日 2026年11月11日　Yahoo Finance（ImvivaBio のプレスリリース）　アメリカ



概要

ImvivaBio社が開発する他家CAR-T細胞療法「CTA313」が、全身性エリテマトーデス（SLE）およびループス腎炎（LN）において、持続的な寛解と免疫系のリセットを誘導した。12ヶ月の追跡調査において、非腎性SLE患者のDORIS寛解率は88%に達し、B細胞の深い枯渇後の再構成が確認された。CD19とBCMAの二重標的アプローチが、単一標的よりも優れた寛解成果をもたらす可能性が示されている。

詳細

主要成果

ImvivaBio社は、2026年11月6日から11日にフロリダ州オーランドで開催されたAmerican College of Rheumatology (ACR) Convergence 2026にて、他家CAR-T細胞療法「CTA313」の長期データを発表した。難治性SLE患者14名を対象としたプール解析では、投与後6ヶ月時点でSRI-4反応率が91%、DORIS寛解率が73%に達し、12ヶ月時点ではDORIS寛解率が88%（8人中7人）まで向上した。また、評価可能な患者の92%がグルココルチコイドの使用量を1日5mg以下に抑え、92.9%が免疫抑制剤を中止していた。

技術・詳細

CTA313は、CD19とB細胞成熟抗原（BCMA）を同時に標的とする二重標的の他家（allogeneic）CAR-T細胞療法である。単一抗原の標的では自己反応性B細胞の前駆体やプラズマ細胞の貯蔵庫が残り、再発につながる可能性があるため、二重標的による「免疫リセット」を狙っている。具体的なデータは以下の通りである。

- **B細胞の挙動：**投与後7日目までにB細胞が中央値52.2から0 cells/μLまで深く枯渇し、42日目頃に主にナイーブ表現型として再構成された。
- **バイオマーカー：**抗二本鎖DNA（anti-dsDNA）抗体は3ヶ月目までに検出不能となり、補体成分C3は28日目までに0.65から1.34 g/Lに上昇した。
- **LNへの効果：**ループス腎炎（LN）患者の50%（14人中7人）が、4ヶ月時点で完全腎寛解を達成した。
- **安全性：**サイトカイン放出症候群（CRS）は35.7%に認められたがすべてグレード1であり、神経毒性や移植片対宿主病（GvHD）は観察されなかった。グレード3以上の有害事象は、好中球減少症（71.4%）、血小板減少症（21.4%）、感染症（21.4%）であった。

背景・業界の文脈

SLEおよびLNの現在の標準治療は広範な免疫抑制に依存しており、不完全な反応や再燃、長期的な毒性が課題となっている。ImvivaBio社は、単一標的のCD19 CAR-T（n=17）と二重標的のCD19/BCMA CAR-T（n=27）を比較したデータも提示した。その結果、二重標的アプローチはより深いB細胞枯渇を実現し、腎関与が少ないSLEにおける12ヶ月時点のDORIS寛解率は、単一標的の20%に対し、二重標的は80%と大幅に上回った。なお、二重標的ではプラズマ細胞の深い枯渇に伴い、低ガンマグロブリン血症の頻度が高かった（85%対12%）。

今後の展望

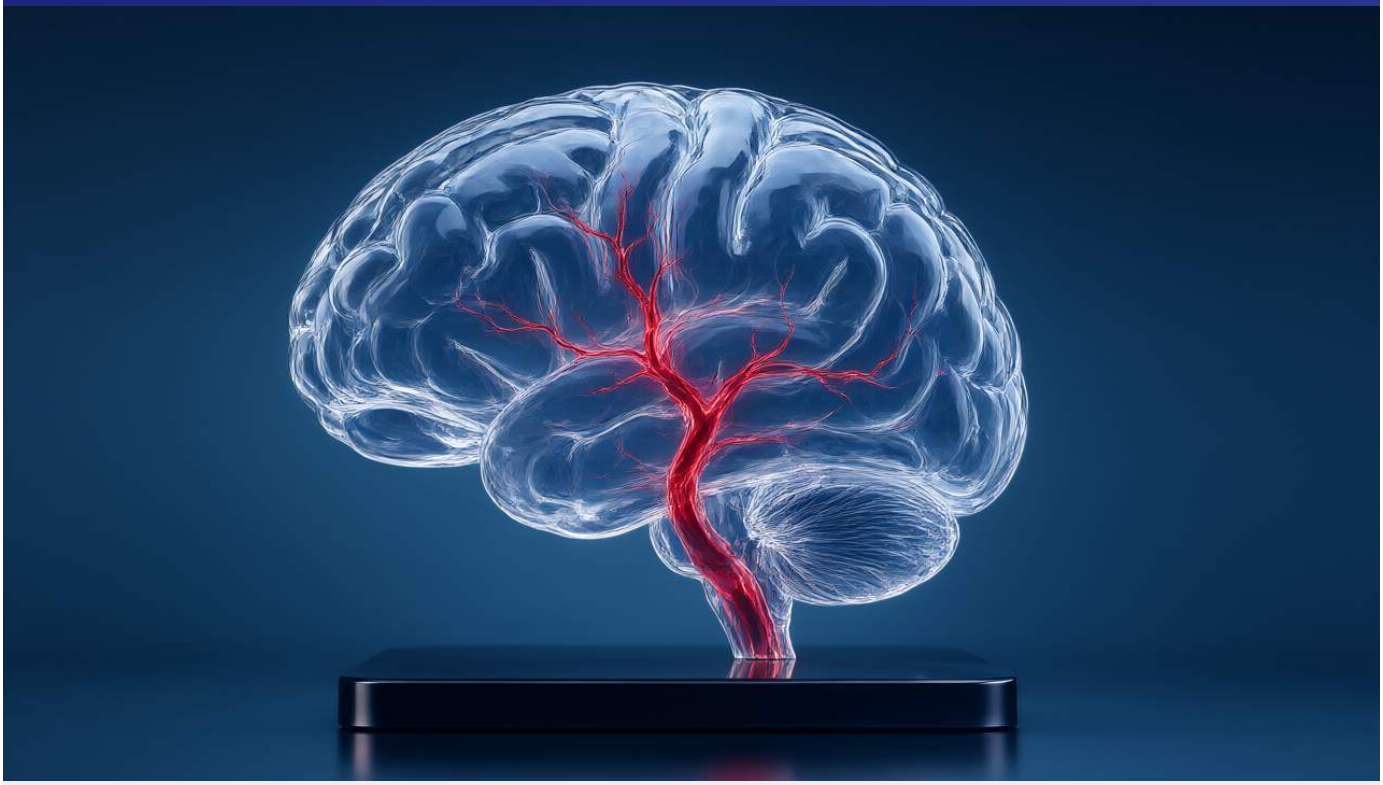
今回の12ヶ月にわたる追跡データは、深いB細胞枯渇とナイーブB細胞による再構成、そして寛解が持続することを示した。同社は、これらの結果がCTA313の「オフザシェルフ（既製品）」アプローチによる持続的な疾患制御の可能性を裏付けるものであるとしており、今後、グローバルな第1b相試験である「ALLNEWバスケット試験」での評価を進める計画である。

元記事: https://finance.yahoo.com/healthcare/articles/imvivabio-presents-longer-term-data-130000771.html

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#10 Asundexian｜初のFXIa阻害薬による脳卒中再発予防の性能とFDA承認条件

公開日 2026年11月09日　NeurologyLive　アメリカ



概要

FDAが、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作（TIA）後の再発リスクを低減する初の血液凝固第XIa因子（FXIa）阻害薬「Asundexian（製品名：Sunharbo）」を承認した。第3相試験において、抗血小板療法にAsundexian 50mgを併用した群は、プラセボ群に対し虚血性脳卒中の発生率を6.2%から8.4%へと有意に低下させた。出血リスクを大幅に増やすことなく再発率を抑制できるため、既存治療でリスクが残る患者への新たな治療選択肢となる。

詳細

主要成果

FDAは、Bayer社が開発した経口FXIa阻害薬であるAsundexian（製品名：Sunharbo）を、非心原性虚血性脳卒中または高リスク一過性脳虚血発作（TIA）後の再発リスク低減薬として承認した。主要評価項目である虚血性脳卒中の発生率は、Asundexian 50mgを1日1回投与した群で6.2%、プラセボ群で8.4%となり、ハザード比（HR）0.74（P <.001）と有意なリスク低減が確認された。また、虚血性および出血性脳卒中の複合エンドポイントにおいても、6.6%対8.8%（HR 0.74, P <.001）と良好な結果を示した。

技術・詳細

本承認の根拠となった第3相試験「OCEANIC-STROKE」では、12,327人の患者（Asundexian群 6,162人、プラセボ群 6,165人）を対象に、イベント発生から72時間以内にランダム化を行い、標準的な単剤または二剤抗血小板療法にAsundexian 50mgまたはプラセボを上乗せして投与した。中央値14.2ヶ月の治療期間において、虚血性脳卒中のリスクを26%低減させた。

その他の心血管アウトカムにおいても、心血管死・心筋梗塞（MI）・脳卒中の複合エンドポイント（HR 0.83, P <.001）および、全死因死亡・MI・脳卒中の複合エンドポイント（HR 0.85, P = .003）でリスク低減が認められた。安全性に関しては、ISTH定義による主要出血の発生率はAsundexian群で1.9%、プラセボ群で1.7%（HR 1.10, P = .46）であり、統計的な有意差は認められなかった。有害事象の発生率（69.3%対70.1%）および重篤な有害事象の発生率（19.2%対19.5%）も両群で同等であった。

背景・業界の文脈

世界で毎年発生する約1,200万件の脳卒中のうち、非心原性虚血性脳卒中が約45%を占める。ガイドライン推奨の治療を行っても、約10人に1人が1年以内に再発するという高いリスクを抱えている。本剤は、凝固系において血栓形成に関与する第XIa因子を標的とすることで、出血リスクを抑えつつ血栓形成を抑制することを目指した設計となっている。なお、本剤の用量設定は、心血管疾患を持つ患者で有効なシグナルを示した第2b相試験「PACIFIC-STROKE」の結果に基づいている。

今後の展望と使用上の注意

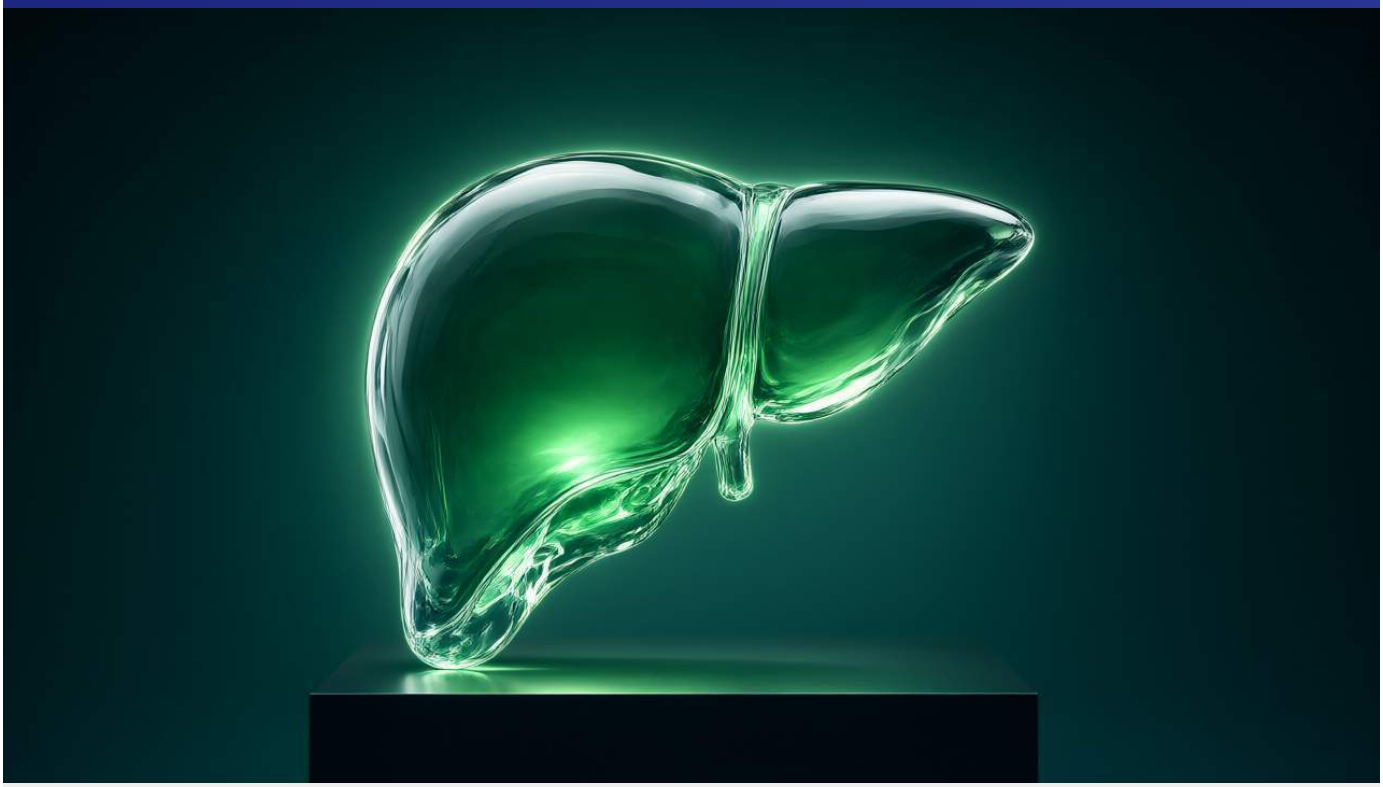
Asundexianは、NIHSSスコアが15以下であり、画像診断で非ラクナ梗塞が確認された、あるいは動脈硬化の既往や脳血管画像でプラークが認められる患者などの試験基準を満たす集団に限定して使用される。一方で、心房細動患者への予防投与は承認されておらず、中等度から重度の肝機能障害患者への投与も推奨されない。また、P-gpおよび強力なCYP3A4誘導剤の併用は薬効を低下させる可能性があるため避けるべきである。手術前の休薬（少なくとも24時間前）や、急性虚血性脳卒中に対する血栓溶解療法後の投与開始（少なくとも24時間後）などの管理が求められる。

元記事: https://www.neurologylive.com/view/fda-approves-asundexian-treatment-secondary-stroke-prevention

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)

#11 Elebsiran・Tobevibart｜慢性デルタ肝炎治療のウイルス抑制性能と完治の可能性

公開日 2026年11月08日　Business Wire（AOL掲載）　アメリカ



概要

Vir Biotechnology社が、慢性デルタ肝炎（CHD）治療薬であるelebsiranとtobevibartの併用療法について、深いウイルス抑制と持続的な効果を示す第2相SOLSTICE試験の拡大データを発表した。96週まで治療を完了した患者の100%（28/28人）がウイルス検出限界以下に達し、肝硬度（肝炎症・線維化の指標）の改善または安定が確認された。さらに、治療中断後もウイルスが再上昇せず、限定的な期間の治療で完治に至る可能性が示唆されている。

詳細

主要成果

Vir Biotechnology社が実施した第2相SOLSTICE試験において、elebsiranとtobevibartの月1回皮下投与による併用療法が、慢性デルタ肝炎（CHD）患者に対し極めて強力なウイルス抑制効果を示した。96週まで治療を完了した全患者（28/28人、100%）において、HDV RNAが検出限界以下にまで抑制された。また、肝炎症および線維化の非侵襲的指標である肝硬度を測定した患者のうち、89%（24/27人）で数値の改善または安定が確認されており、ウイルス抑制に伴い肝機能の改善が進んでいることが示された。

技術・詳細

本治療レジメンの安全性については、概ね良好に耐容され、有害事象は軽度から中等度であった。治験薬に関連した投与中止や深刻な有害事象は報告されていない。特筆すべきは、治療の「有限性（finite treatment）」に関する探索的解析の結果である。96週間以上ウイルス検出限界以下を維持した患者が治療を中断し、その後の持続的ウイルス反応（SVR）を評価したところ、中断を選択した10名（うち7名は肝硬変患者）全員がSVR12（最終投与から12週後のウイルス抑制維持）を達成した。さらに、追跡期間が長い患者のうち7名がSVR24を、1名がSVR48を達成した。これらの患者において、ウイルスのリバウンドやALT（アラニンアミノトランスフェラーゼ）の急上昇は観察されず、ALTレベルは安定的に推移した。

背景・業界の文脈

慢性デルタ肝炎は深刻な未充足の医療ニーズがある疾患であり、本併用療法は米国食品医薬品局（FDA）から「ブレイクスルーセラピー（画期的治療薬）」および「ファストトラック」指定を受けている。また、欧州医薬品庁（EMA）からも「PRIME（優先医薬品）」および「希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）」の指定を受けている。商用化に向けては、2025年12月にNorgine社と独占的ライセンス契約を締結しており、欧州、オーストラリア、ニュージーランドでの商業化はNorgine社が担当する予定となっている。

今後の展望

同社は現在、登録プログラムであるECLIPSE試験を推進している。本日、第3相試験であるECLIPSE 1において、すべての主要評価項目を達成したというトップライン結果が発表された。ECLIPSEプログラムは、遅延治療やbulevirtideとの比較を行う3つの試験（ECLIPSE 1, 2, 3）で構成されており、これらのデータを統合した包括的な申請パッケージを2027年半ばに米国FDAへ提出する計画である。これにより、従来の慢性的な抑制治療を超え、限定的な期間の治療による「完治」という新たな治療アプローチの実現が期待される。

元記事: https://www.aol.com/articles/vir-biotechnology-announces-expanded-phase-214500000.html

収集日: 2026年11月15日 | 自動記事収集・翻訳システム (AI使用)