



<バイオ医薬・リサーチ・レポート>

情報提供用資料

2025 年 10 月 21 日

バイオ医薬セクター 2025 年 Q3 の振り返り

■当局とトランプ政策の混沌が継続するも、バイオ医薬への揺らがないニーズが改めて評価された

2025 年 5 月頃までの半年間ほど苦戦が続いたバイオ医薬セクター株式は、Q3(7～9 月期)には強い揺り戻しが起こった。9 月末時点でも中期的な出遅れ感はあるが、7～8 月には米国全体を上回るパフォーマンスとなった。

この背景として、①5 月までの度重なる急落によって陥った出遅れが目立つ状態からの日柄を経てのテクニカルな反動、②当局、すなわち米国食品医薬品局(FDA)を含む厚生省傘下機関の人事面での混沌(その就任が 5 月 6 日の株価急落を招いた遺伝子治療などに懐疑的な立場のブラサド氏が生物製品評価研究センター所長解任後 2 週間で復帰)や医薬品広告規制(トランプ米大統領が 9 月 9 日、医薬品広告の取り締まりを強化する大統領覚書に署名)、医薬品への関税の表明などの施策が(ワクチン分野を除いて)大きなネガティブ・サプライズと認識されなくなり、影響が限定的と捉えられたこと、③バイオ医薬を管轄する FDA は大幅な人員削減に挫けることなくポジティブなアクションを続け、バイオ医薬企業も多くの良好な臨床データを発表したことから、バイオ医薬に価値があるという現実が見直されたというファンダメンタルズ要因、などが挙げられよう。有力な中小型 M&A(企業の合併や買収)も目についた。

そのポジティブな流れを引き継いだ 10 月初頭には、米国政府による直販サイト「TrumpRx」の開設予定、米ファイザー(PFE)とトランプ政権の薬価引き下げ合意と関税の減免が発表され、他社も追随するとの見方から不確定要因が減少、医薬品セクターのラリーが起こった。

i シェアーズ・バイオテクノロジーETF の価格推移 (2019/9 末～2025/9 末)



(出所)ブルームバークのデータを基にキャピタル アセットマネジメントが作成

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社 (CAM) が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。



個別銘柄の動向をみると、臨床試験データ、FDA によるアクション、主力品の収益動向に起因する株価の明暗が引き続き見受けられた。以下のパートでは主な動きを個別に説明していく。なお、当社が運用する投資信託に組み入れていない銘柄も含めて業界動向としてお伝えしていることにご留意願います。

■ 個別銘柄に関するポジティブ要因

バイオ医薬セクターにおいては、次のようなポジティブ要因があった。

- ① 臨床試験の成功・良好な結果：オランダを拠点とする遺伝子治療企業ユニキュア(QURE)は、開発品・AMT-130(ハンチントン病向け)の 36 か月に及ぶフェーズ 1/2 臨床試験で主要評価項目を達成した。発表直後の 9 月 24 日に株価は約 3.5 倍へと上昇、9 月末の株価は 1 年前の 12 倍近い。遺伝子治療に懐疑的な考えをもつプラサド氏の存在は懸念要素だった(5 月 6 日の株価が 27.8%下落)が、揺らがない難病への治療ニーズという現実が高く評価されている。発表されたデータでは、AMT-130 の高用量投与群で cUHDSR とよばれるスコアによる評価で外部対照群と比べて 75%の有意な疾患の進行遅延を示した。FDA から 2024 年 12 月に迅速承認手続き、2025 年 4 月には優先扱いの最上位に相当するブレイクスルー(画期的)治療の指定を受けていた。その革新性、FDA による審査の加速、商業化見通しが有望視されてきたが、試験データによってその確度が高まった。なお、このデータ開示に伴い、ライバル候補を開発する米 PTC セラピューティクス(PTCT)の株価は下落した。QURE は 9 月 5 日にファブリー病という難病に対する別の開発品の有望なデータも発表している。

新型コロナワクチンを PFE と共同で商業化したことで有名な独ビオンテック(BNTX)は、抗体薬物複合体(ADC)技術を用いた BNT323 の乳がん(HER2 陽性)患者に対する既存薬(Kadcyla)を比較対照とする中国での臨床試験において既存薬を上回る成績を示したと発表、9 月 5 日に米国預託証券価格は 8.7%上昇した。

米ペップジエン(PEPG)は、オリゴヌクレオチドと呼ばれる核酸医薬を基盤技術とするバイオ医薬企業であり、筋強直性ジストロフィー 1 型(DM1)という遺伝性の難病に対する開発品・PGN-EDODM1 の単回投与の良好な試験結果を発表、9 月 25 日までの 2 日間で株価は約 3 倍になった。試験結果によると、53.7%のスプライシング補正、すなわち正常化の反応が検出された。

米 MBX バイオサイエンシズ(MBX)は、週 1 回投与の開発品・canvuparatide が、慢性副甲状腺機能低下症の成人患者を対象としたフェーズ 2 臨床試験において主要評価項目を達成したと発表した。12 週間の時点で投与患者の 63%、継続的観察期間の 6 か月時点で 79%の患者に良好な反応が示された。MBX の株価は 9 月 22 日に 2 倍になった。

米コージェント・バイオサイエンシズ(COGT)は、開発品・bezuclastinib の進行性全身性肥満細胞症という炎症性の疾患を対象としたフェーズ 3 臨床試験において、24 週時点の総症状スコアで偽薬に対する優越性を示した。COGT の株価は 7 月 7 日に 23.4%上昇、株価はその後も堅調に推移した。

米ストック・セラピューティクス(STOK)は、開発品・zurevunersen の重度てんかんに対する 3 年間のオープンラベル試験の良好な結果(持続的な発作減少と認知機能の改善)を発表、STOK の株価は 8 月 13 日に 25.0%上昇した。

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社(CAM)が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。



米イオニス・ファーマシューティカルズ(IONS)は、重度高トリグリセリド(中性脂肪)血症患者 1,100 人を対象としたフェーズ 3 臨床試験で空腹時トリグリセリド値において最大 72%の偽薬調整減少率を示し、急性膵炎の発症率も 85%低下させるという統計的に有意な結果を発表した。IONS の株価は 9 月 2 日に 34.8%上昇、その後も堅調に推移した。

- ② ポジティブな審査当局(FDA など)のアクション：米インスメッド(INSM)は、慢性的な肺疾患である非嚢胞性線維症気管支拡張症に対する初の治療薬として、商標名・Brinsupri(4 月 1 日付け当社レポート「ブロックバスター候補をもつ 5 社の例」の中で一般名:Brensocatib として表現していたもの)の承認を FDA から取得した。発表のあった 8 月 12 日に INSM の株価は 8.1%上昇した。

米プレジエン(PGEN)は、再発性呼吸器乳頭腫症(パピロームウイルスの感染によって喉頭などに良性腫瘍が発生する疾患)の成人に対する治療薬として商標名・Papzimeos(一般名:zopapogen iamadenovect-drba)の承認を FDA から取得した。リリースされた 8 月 15 日に PGEN の株価は 58.9%上昇した。

米カルヴィスタ・ファーマシューティカルズ(KALV)は、遺伝性血管性浮腫の急性発作に対する治療薬として商標名・Ekterly(一般名:sebetralstat)の FDA 承認を取得した。Ekterly は当該発作に対する経口薬として現時点で唯一の選択肢である。KALV の株価は発表のあった 7 月 7 日に 25.7%上昇した。

第一三共は、米メルクと巨額のライセンス契約を締結済で同社の超大型商品である Enhertu と同様に ADC 技術を用いた開発品・ifinatamab deruxtecan(I-DXd/DS-7300)につき、進展型小細胞肺癌治療を対象として FDA からブレイクスルー治療の指定を受けた。リリースが発信された 8 月 19 日に第一三共の株価は 4.8%上昇した。

デンマークのジェンマブ(GMAB)は、開発品・Rina-S につき、子宮内膜がん患者を対象として FDA よりブレイクスルー治療の指定を 8 月 26 日に付与された。その後、後述の M&A 取引が株式市場で評価されたこともあり、同指定の前日から 9 月末にかけて GMAB の米国預託証券価格は 26.2%上昇した。

エーザイと米バイオジェン(BIIB)は、アルツハイマー病による認知症に対する維持療法薬として共同で商業化している Leqembi 皮下注射製剤の承認を FDA より取得したと 8 月 30 日に発表した。オートインジェクター機構により平均 15 秒で投与が完了する。従来の静脈注射製剤に比べて在宅での継続治療が可能になるなどの利便性の点で優れている。さらにエーザイは、開発品・etalanetug(E2814)につき、アルツハイマー病治療を対象として FDA からファストトラック(迅速承認)指定を受けたことを 9 月 16 日に発表した。etalanetug はアルツハイマー病の原因となる神経変性に関与しているタウタンパク質に対する抗体製剤であり、レケンビなどの既存薬とは異なる新規の作用機序を有している。それぞれの発表直後のエーザイの株価には強さが見受けられなかったが、サイエンスや医療の側面でポジティブな事象であるといえる。FDA は、代謝機能障害関連脂肪性肝炎(MASH、かつて非アルコール性脂肪肝と呼ばれていた疾病)への治療効果を測定するための、全死亡率などの真のエンドポイント(評価項目)に代わる代替エンドポイントとして企業側から提案されていた「肝臓の硬直」を適切なものとして受け入れることを 8 月 27 日に表明した。米アルティミューン(ALT)など、この領域の開発品を有する企業にとって臨床試験のシンプル化という意味でポジティブであり、ALT の株価は 8 月 27 日に 6.7%上昇した。なお、前述のプラサド氏はこうした

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社(CAM)が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。



代替エンドポイントを信頼度の低いものとして厳格に捉える考え方である。MASH 治療がプラサド氏の管轄する領域(ワクチンや遺伝子治療)ではなかったことが幸いだったかもしれない。

米アクエスティブ・セラピューティクス(AQST)は、重度アレルギー反応を対象とする開発品・Anaphylm 舌下剤につき、FDA より諮問委員会による審議が不要であるとの通知を 9 月 4 日に受領した。目標審査完了日は 2026 年 1 月 31 日で不変であったが、9 月 4 日の AQST 株価は 28.1%上昇した。米トラヴィア・セラピューティクス(TVTX)も、商標名・Filspari の腎臓の疾患である焦点性分節性糸球体硬化症を対象とする追加適応の承認申請に関して、諮問委員会による審議が不要であると 9 月 10 日に FDA から通知された。目標審査完了日は 2026 年 1 月 13 日で不変であったが、不確実性の軽減により、9 月 10 日の TVTX 株価は 26.2%上昇した。

- ③ M&A の対象になった：米メルク・アンド・カンパニー(MRK)は、呼吸器疾患分野強化のために英国のベローナ・ファーマ(VRNA)を約 100 億米ドルで買収することを発表した。報じられた 7 月 9 日に VRNA の米国預託証券価格は 26.6%上昇した。

仏サノフィ(SNY)は、7 月 22 日にワクチン事業強化のために英ヴァイスバイオ(Vicebio)を買収することを発表した。対価としては 11.5 億米ドルの一時金と、開発及び承認取得の各段階で 4.5 億米ドルのマイルストーン支払いが予定されている。

SERB ファーマシューティカルズは、小児神経芽腫などの小児がん領域の開発品を取り込むために仏 Y-mAbs セラピューティクス(YMAB)を約 4.12 億米ドルで買収することを 8 月 5 日に発表した。同日、YMAB の株価は 2 倍を超える上昇となった。

スイスのノバルティス(NVS)は、免疫疾患及び炎症性疾患領域に特徴のある米トルマリン・バイオ(TRML)を約 14 億米ドルで買収することを 9 月 9 日に発表、TRML の株価は 57.9%上昇した。

スイスのエフ・ホフマン・ラ・ロシュ(ROG)は、肝臓と心臓の代謝領域に注力する米 89 バイオ(ETNB)を約 24 億米ドル(および、特定の目標達成時に支払いを受けられる CVR と呼ばれる条件付き価値が別途付与され、条件達成した場合には合計で最大約 35 億米ドル)で買収することを 9 月 18 日に発表した。同日、ETNB の株価は 85.1%上昇した。ROG は、MASH 向けにフェーズ 3 臨床試験中の開発品・pegozafermin を取り込むことになった。

前述の GMAB は、オランダのメルス(MRUS)を約 80 億米ドルで買収することを 9 月 29 日に発表した。同日、MRUS の株価は 36.0%上昇した。

■個別銘柄に関するネガティブ要因

- ① 臨床試験の失敗や深刻な副作用(発売後を含む)：米バーテックス・ファーマシューティカルズ(VRTX)は、1 月に FDA 承認を取得した新薬・Journavx と類似の非オピオイド系の VX-993 のフェーズ 2 臨床試験において、外反母趾手術後の急性疼痛治療で偽薬に対して有意差を示すことができなかったと発表した。米国では合成オピオイドのフェンタニルの濫用が社会問題となっており、非オピオイド系の治療選択肢が増えることは待ち望まれているが、神経損傷による慢性疼痛向けでも見通しが厳しくなったと捉えられた。発表を受けて VRTX の株価は 8 月 5 日に 20.6%下落した。
- 米アカディア・ファーマシューティカルズ(ACAD)は、ブラダー・ウィリー症候群(染色体異常が原因で発症する希少疾病)の過食症に対する経鼻剤・ACP-101 の臨床を評価したが、効果を示すことができなかった。

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社(CAM)が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。



ACAD はこの適応症での ACP-101 の開発中止を決定した。ACAD の株価は 9 月 24 日の 9.9% 下落した一方で、この領域で承認を受けた治療薬(商標名 : DCCR)を上市しているソレノ・セラピューティクス(SLNO)の株価は、競争上の脅威が消失したと捉えられたことから同日に 13.5% 上昇した。

- ② 臨床試験は失敗ではなかったが、期待に届かなかった : アイルランドのアルカームズ(ALKS)は、日中の過度の眠気を主症状とするナルコレプシー患者に対する開発品・alixorexton の臨床試験において、日中の過度の眠気や、疲労や認知などの症状のスコアで有意な改善を示したと発表した。しかしながら、投資家の期待ほどではなかったことから 7 月 21 日の株価は 8.8% 下落した。

中外製薬が起源で米イーライ・リリー(LLY)が開発している GLP-1 受容体作動薬候補品・orforglipron の、糖尿病を合併しない肥満患者を対象とするフェーズ 3 臨床試験において、72 週時点で平均 12.4% の体重減少を達成するなど全ての主要な評価項目を達成したことが 8 月 7 日に発表された。しかしながら、投資家による期待値に届かなかったため、LLY の株価は 8 月 7 日に 14.1% 下落、中外製薬の株価も 8 月 8 日に 17.7% 下落した。

- ③ 業績面での失望 : 米モデルナ(MRNA)は、ワクチン需要不振により 2025 年のガイダンスを下方修正し、MRNA 株価は 8 月 1 日まで 2 営業日で 14.1% 下落した。

米ヒューマサイト(HUMA)が発表した Q2(4~6 月期)売上高がコンセンサスを下回ったため、8 月 11 日に HUMA 株価は 29.4% 下落した。

スイスにグローバル本社をおくノボキア(NVCR)は、電場治療機器導入のためのコスト増などを理由とした EBITDA 損失がコンセンサスよりも拡大したこと、膠芽腫治療の医療機器・Optune Gio の処方枚数が減少したことなどがネガティブ視され、7 月 24 日の NVCR 株価は 24.0% 下落した。

- ④ FDA などの当局によるアクション(承認却下、追加試験要求、審査の遅延など) : MRNA は業績の下方修正を発表した後も、ワクチンに対して懐疑的な立場をとり続けているケネディ・ジュニア厚生相率いる当局によるネガティブなアクションの影響を被り続けた。8 月 5 日には米厚生省傘下の生物医学先端研究開発局の下で進められていた mRNA(新型コロナワクチンに使用されたメッセンジャーRNA のこと)ワクチン関連の助成金の取りやめ、契約や募集の取り消しや縮小が発表されたうえに、厚生省では mRNA 技術に基づく新規プロジェクトを開始しないことが表明された。8 月 25 日には米国の Daily Beast 紙がケネディ・ジュニア厚生相の同僚のコメントを引用して、米国政府が数か月以内に mRNA ワクチンを市場から撤退させる方針であることを報道した。9 月 19 日には米疾病対策センター(CDC)の新メンバーによるワクチン諮問委員会が、新型コロナワクチン接種の一律推奨を終了させることを決議した。ケネディ・ジュニア厚生相は 6 月に同諮問委員会のメンバー全員を一斉に解任した後、新メンバーを任命、ワクチンにとって逆風となる決議に至った。ガイダンスの下方修正によって下落した MRNA の株価は、ガイダンスによる下落直後の 8 月 1 日から 9 月末にかけてさらに 6.4% 下落した。

デンマークの IO バイオテック(IOBT)は、FDA からバイオ新薬の申請を実質的に拒絶されたことを発表、9 月 29 日の IOBT 株価は 76.9% 下落した。IOBT は、悪性黒色腫に対するがん治療ワクチンとしての開発品・Cylembio(IOB-013)の FDA への承認申請を企図し、事前相談していたが、FDA が申請しないように勧告したとのことである。フェーズ 3 臨床試験で Cylembio 投与群は無増悪生存期間を改善した

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社(CAM)が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。



が、対照群に対する有意性にわずかに届いていなかった。

米サレプタ・セラピューティクス(SRPT)は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー向け遺伝子治療薬・Elevidys について、複数の肝障害による死亡例を公表した後に FDA から出荷停止要請を 7 月 19 日に受領した(その後、7 月 28 日に停止解除、出荷再開となった)。7 月 18 日の SRPT 株価は 35.9%下落した。米レプリミューン・グループ(REPL)は、悪性黒色腫向けに開発中の RP1 (vusolimogene oderparepvec)を承認申請中であつたが、FDA から承認できないとするレターを受領した。7 月 22 日当日の REPL 株価は 77.2%下落した。フェーズ 1/2 の IGNITE 臨床試験(32.9%の奏効率を示していた)に関して、過去の審査過程で無かつた(それゆえに、REPL は想定外とコメントしている)指摘(臨床試験の設計や患者背景のばらつき)が後出し的になされ、有効性の立証が不十分であると扱われた。このことは、FDA による最近の審査の厳格化を反映したものと捉えられている。RP1 は REPL が創製したウイルス療法製剤であり、『がん細胞だけに RP1 が感染 → がん細胞内でのウイルス増殖による直接的ながん細胞破壊 → 破壊されたがん細胞から腫瘍抗原が放出されることでヒトの免疫系を活性化 → 小野薬品工業らのオプジーボなどの免疫チェックポイント阻害剤と併用すれば、攻撃力が維持されたヒトの免疫系ががん細胞を攻撃』という作用機序によってがん治療を企図したものであつた。REPL では進行中のフェーズ 3 臨床試験を含めて今後の進行について FDA と相談しながら進めていく方針である。

米カプリコア・セラピューティクス(CAPR)は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー向けヒト心臓細胞由来の培養細胞療法製品・CAP-1002 に関して、FDA にバイオ製剤製品としての承認申請をしていたが、7 月 9 日に FDA から承認できないとするレターを受領した。CAP-1002 は、培養細胞が放出する核酸などの物質が筋ジストロフィー患者の心臓や骨格筋の細胞変性を遅らせることを企図して開発してきた。開示された 7 月 11 日の CAPR 株価は 33.0%下落した。細胞療法の CAP-1002、およびウイルス療法の RP1 という先端的生体技術の承認申請が相次いで拒まれたことから、(遺伝子治療などの先端生体技術に懐疑的な立場をとるケネディ・ジュニア厚生相就任後の)FDAによる審査が厳格化してきたこと、すなわち、承認に向けてのハードルが高まったことを意味していると認識せざるを得ないであろう。

■ バイオ医薬セクターの魅力について

トランプ政権下では、トランプ大統領による関税、最恵国待遇としての薬価引き下げなどの施策に加えて、先端技術やワクチンに懐疑的な人物が医療ヘルスケア分野の要職に就いており、政治に振り回される展開が続いている。そのことは Q2 までのバイオ医薬セクター株価の出遅れに如実に反映されていたと思われる。

しかしながら、疾病を治療したい、健康でありたいという人々の欲求は変わらず存在し、その医療ニーズを充足していくバイオ医薬の価値は本質的なものであるといえる。今回振り返った Q3 の期間には新薬・開発品に関する多くのポジティブな進展が発表された。それらはバイオ医薬の価値が見直される契機となり、バイオ医薬セクター株価は回復途上にあることが見受けられる。

当社では、技術的視点と市場性を踏まえて価値の高いバイオ医薬を個別に見極め、分析し、有望銘柄の絞り込みにつなげることで、バイオ医薬の価値と成長を長期的に捉えていきたいと考えております。

以上

免責事項

当資料は、情報提供を目的として、キャピタル アセットマネジメント株式会社 (CAM) が作成したもので、投資信託や個別銘柄の売買を推奨・勧誘するものではありません。また、CAM が運営する投資信託に当銘柄を組み入れることを示唆・保証するものではありません。当資料の内容は作成基準日現在のものであり、将来予告なく変更されることがあります。当資料に市場環境等についてのデータ・分析等が含まれる場合、それらは過去の実績及び将来の予想であり、今後の市場環境等を保証するものではありません。当資料は当社が信頼性が高いと判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性を保証するものではありません。