

<バイオ医薬・リサーチ・レポート>

情報提供資料

2026年1月13日

バイオ医薬・5つのブロックバスター候補

■セクターの根底にある成長ストーリーとブロックバスター（年商10億米ドル超の大型薬）候補

バイオ医薬業界を見渡すと、景気減速懸念に影響されない成長モデル、すなわち、技術革新がアンメットメディカルニーズ（満たされていない医療の需要）のある疾患に適用されて治療を実現し、価値を創出・具現化していく成長ストーリーのある銘柄群の存在が浮かびあがる。それら銘柄群は高いプレミアム付きでM&A（企業の合併や買収）の対象となることが多い。世界バイオ医薬株式ファンドのアドバイザーであるセクトラルアセットマネジメント（以下、セクトラル）では、こうした成長モデルの主役となるブロックバスター候補に注目してきた。適期にある有力なブロックバスター候補を抱え、バリュエーション面でもリーズナブルな位置にある中小型のバイオ医薬株式を選別投資していくことは、その期待変化率の高さからも有効なバイオ医薬投資戦略になると当社では考えている。おそらくはAI（人工知能）を含む技術革新の恩恵により、バイオ医薬開発の成功確率が上昇していることも、数々のブロックバスター候補輩出に繋がっていると当社では推察している。本レポートでは、5つのブロックバスター候補を紹介する。

■ロイバント・サイエンシズの皮膚筋炎薬候補・brepositinib（プレポシチニブ）

英ロイバント・サイエンシズの新薬パイプライン（新薬候補のポートフォリオのこと）のコアであるbrepositinibは、筋肉や皮膚に炎症が生じて筋力の低下と皮膚の発疹を特徴とする自己免疫疾患である皮膚筋炎（炎症性筋炎）向けの経口治療薬候補である。同品は米ファイザーとの提携の下で開発している。2025年9月に皮膚筋炎向けで良好なフェーズ3試験結果を開示、2026年前半に米食品医薬品局（FDA）への承認申請を目指している。セクトラルでは、順調に進めば、2026年内に新薬として承認される可能性があると考えている。非感染性ぶどう膜炎（免疫の異常によっておこるといわれている眼球の炎症性疾患）向けでは2024年9月にFDAからファストトラック（優先審査）の指定を受けている。皮膚筋炎の米国内患者数は推定4～5万人、brepositinibのピーク年商は30億米ドルを超えると予想されている。

■アセンディス・ファーマの副甲状腺機能低下症治療薬・Yorivpath（ヨビパス）

デンマークのアセンディス・ファーマは、ホルモンなどの内分泌系の希少疾患に対する治療薬を開発している。Yorivpathは副甲状腺機能低下症に対する初の治療薬として2024年8月にFDAの承認を受領した1日1回自己注射可能な製剤である。2025年8月には、日本国内でもヨビパスの商標名で厚生労働省からの承認をライセンス先の帝人ファーマが取得している。副甲状腺機能低下症は、副甲状腺ホルモンの欠乏や不足に起因する内分泌疾患で、疲労、関節痛、筋肉痛、認知障害などの症状を引き起こすとされている。中でも体液中のカルシウム低下に伴うけいれんなどの神経筋症状が最も問題とされている。Yorivpathのピーク年商は30億米ドルを超えると予想されている。

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。

■アイオニス・ファーマシューティカルズの重症高トリグリセリド血症向け・olezarsen（オレザルセン）

米アイオニス・ファーマシューティカルズは、RNA（リボ核酸）技術の先駆者であり、神経疾患や心血管疾患向けの治療薬を販売している。olezarsen（一般名）は TRYNGOLZA（トリンゴルザ）という商標名で、家族性カイロミクロン血症症候群（FCS）という稀な難病の成人患者向けにトリグリセリド（中性脂肪）値を低下させる効能で単回投与オートインジェクター製剤が 2024 年 12 月に FDA の承認を取得した。2025 年 9 月に発表された重症高トリグリセリド血症（sHTG）向けフェーズ 3 試験の良好な結果に基づき、アイオニスでは近いうちに FDA への効能追加の申請を目指している。米国における FCS の患者数が 3,000 人程度に過ぎないのに対して、ハイリスク（トリグリセリドの血液中濃度が 880mg/dL を超える患者、および 500mg/dL 以上であって急性臍炎の既往症のある患者）の sHTG 患者は 100 万人超、それ以外の sHTG 患者は 200 万人超とされており、olezarsen のピーク年商は 15 億米ドル程度と予想されている。

■PTC セラピューティクスのフェニルケトン尿症治療薬・Sephience（セフィエンス）

米 PTC セラピューティクスは希少疾病に対して差別化された医薬品を開発しているバイオ医薬企業である。Sephience は重篤な症状を引き起こすフェニルケトン尿症（フェニルアラニンをチロシンという別のアミノ酸に変換する酵素の働きが弱く、体内にフェニルアラニンが蓄積し、チロシンが少なくなることに由来して精神発達などに支障をきたす疾病）に対する治療薬として 2025 年 7 月に FDA の承認を取得した。既存の治療法で十分な効果を得られない患者におけるアンメットメディカルニーズに対応する薬剤として期待されている。この領域では、旧アスピオファーマ（サントリーの医薬事業に由来する創薬ベンチャーで第一三共に吸収された）が起源で米バイオマリン・ファーマシューティカルが米国で商業化した Kuvan という既存薬があるが、Kuvan での治療を試みた患者のうち約 70% で良好な効果を得られていない。PTC セラピューティクスでは、世界にいる 58,000 人程度の患者のうち、15~30% をターゲットとしており、ピーク年商は 15 億米ドル程度と予想されている。

■コーボント・バイオサイエンシズの消化管腫瘍向け・bezuclastinib（ベズクラスチニブ）

米コーボント・バイオサイエンシズは、遺伝子疾患に対する精密で画期的な治療法の開発を目指している。bezuclastinib は消化管間質腫瘍（GIST）という消化管壁の筋肉層内にできる悪性腫瘍に対する革新的な治療法になると期待されている。GIST では c-kit（細胞増殖のスイッチとなる受容体にある酵素）遺伝子の変異が関与していることが多く、bezuclastinib は c-kit を選択的に強力に阻害する。2025 年 11 月に発表された良好なフェーズ 3 試験結果（既存の治療法と比較して、疾病の進行や死亡のリスクを低減）に基づき、2026 年内に FDA からの承認を得られる見通しである。アンメットメディカルニーズが現在の標準治療薬である imatinib（スイスのノバルティスファーマが開発した GIST に対する分子標的薬で商標名は Glivec）に向かない（抵抗性があって効かない、または不寛容な）患者グループに残されていると認識されており、ピーク年商は 12 億米ドル程度と予想されている。

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・勧説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。