



<バイオ医薬・リサーチ・レポート>

情報提供用資料

2025年4月1日

バイオ医薬・ブロックバスター候補をもつ5社の例

■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

バイオ医薬業界で圧倒的な存在感のある米国では、米国トランプ新政権下での医療政策をめぐる混乱が報じられている。世界保健機関(WHO)からの脱退が表明され、対外医療支援の多くが凍結された。2024年の予算約480億米ドルで医学・生命科学の基盤技術の発展を主導する米国国立衛生研究所(NIH)の研究活動予算は、新政権が発足してから3月後半までで前年同期比で約6割減少した。ワクチン、肥満薬、医薬品の一般消費者向け直接広告に懐疑的なケネディ・ジュニア氏が厚生長官に就任してからは、規制当局が外部専門家を交えて検討する諮問委員会の延期が相次いだという。ブルームバーグ報道によれば、バイデン前政権下で締結した鳥インフルエンザワクチン開発支援の取り消しも検討中であるなど、新政権は業界にとって試練の幕開けをもたらしている。医療政策の予測困難性はリスク要因に違いないが、各種報道などを経て、これらの懸念要因は相当程度が株式市場にて既に織り込み済みであると当社では考えている。

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、技術革新が疾患に適用されて治療を実現し、巨額市場を創出する成長ストーリーを備えた銘柄群の存在が浮かび上がる。**この銘柄群は期待値・フェーズの高まりとともに高いプレミアム付きでM&A(企業の合併や買収)の対象となることも多い。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では、そうした**成長モデルの主演となるブロックバスター候補の価値に注目してきた。**本編では、そのうち米国のバイオ医薬企業5社が擁するブロックバスター候補を紹介する。

■インスメッドの肺損傷向け吸入薬候補・Brensocatib(ブレンソカチブ)

Brensocatib は、承認されれば肺損傷を起こす難病(非嚢胞性線維症性気管支拡張症)に対する初のDPP1(炎症のトリガーとなる酵素)阻害型治療薬となる見込みである。診断された患者数は米国50万人、EU60万人、日本で15万人といわれており、診断されていない潜在患者はその4倍超とされている。米国食品医薬品局(FDA)から迅速化プログラムの1つであるPriority Review(プライオリティ・レビュー)に指定され、審査終了目標は2025年8月12日。

対象疾患では、好中球という免疫細胞が気道に蓄積し、DPP1という酵素が炎症を引き起こしているが、BrensocatibはそのDPP1を阻害することで気管支の損傷作用を低下させる。インスメッドでは、慢性副鼻腔炎や化膿性汗腺炎を適応拡大対象とする第二相の臨床試験も進行させている。

■サイトキネティクスの肥大型心筋症治療薬候補・Aficamten(アフィカムテン)

Aficamten は、承認されれば2番目の閉塞性肥大型心筋症(oHCM)の治療薬となる。oHCM治療薬には40億米ドルの潜在的な市場規模があるといわれているが、1番目の治療薬であるCamzyos(プリスト

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。



ル・マイヤーズ スクイブ)では安全性をモニターするために当初 4 週間隔の心エコー検査が必要となる縛りがあり、2024 年年商約 6 億米ドルと価値を發揮しきれていない。Aficamten では心エコー検査の頻度を減らす用法をもって FDA からの新薬承認を得ることを目指している。FDA による審査終了目標日は 2025 年 9 月 26 日に設定されている。

■ブリッジバイオ・ファーマのアミロイドーシス心筋症治療薬・Attruby(アトルビー)と Infigratinib(インフィグラチニブ)

Attruby は、2024 年 11 月に FDA より承認されたトランスサイレチン型心アミロイドーシス(ATTR-CM)という、心臓にアミロイドという異常タンパク質が蓄積して心臓の機能が低下する難病の治療薬である。米欧における患者数は 50 万人以上で 200 億米ドル以上の市場機会があるとブリッジバイオでは捉えている。

Infigratinib は軟骨無形成性症という遺伝性の骨障害の治療薬として後期の臨床試験段階にある。米欧での患者数 3.7 万人程度だが、難病への治療薬としてブロックバスター候補である。臨床試験の結果は 2026 年に判明する見通しである。

■ブループリント・メディシズの全身性肥満細胞症治療薬・Ayvakit(アイバキット)

Ayvakit は、2023 年 5 月に FDA からの承認を取得した進行性全身性肥満細胞症(ISM)に対する初の医薬品である。ISM は、アレルギー反応を起こす肥満細胞が異常に蓄積する疾病である。ブループリント・メディシズは肥満細胞に関する研究で 15 年近くリーダー的存在であり、Ayvakit の売上が 2030 年までに 20 億米ドルに、ピーク時には 50 億米ドルの市場規模に達すると予想している。

■タルサス・ファーマシューティカルズのデモテックスダニ感染による眼瞼炎治療薬・Xdemyv

Xdemyv は、2023 年 7 月に FDA から承認された毛嚢虫(ニキビダニまたはデモテックスダニ)感染による眼瞼炎治療薬。ニキビダニの機能を選択的に阻害することで駆除する。根本原因のニキビダニを直接標的とする治療薬として初のものである。現時点で治療中の患者数は 150 万人程度だが、潜在患者を含めて 900 万人程度の患者数が見込まれており、ピーク時には 10 億米ドルを超える売上高に達するとタルサス・ファーマでは予想している。タルサス・ファーマでは、承認取得済である眼瞼炎単独の患者だけでなく、マイボーム腺疾患(まつ毛の生え際にある油層を分泌して涙が乾きにくいようにするマイボーム腺の機能が低下する疾患)に眼瞼炎を併発している患者など、合併症のある患者への臨床開発を進行させることで、潜在患者の掘り起こしに努めようとしている。

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。