

2023年の米国での新薬の承認状況とトレンド

◆2023年、米国で55剤の新薬が承認される

2024年1月、FDA（米国食品医薬品局）は、23年に承認した新薬とそのトレンドについてまとめたリポート「New Drug Therapy Approvals 2023」を発表した。FDAは23年に55剤の新薬を承認した（ワクチンや血液・細胞製剤などを除く）。22年の37剤から大きく増加し、コロナパンデミック前の水準を回復した。55剤の新薬のうち、半数を超える28剤（51%）が希少疾患治療薬だった（図1）。

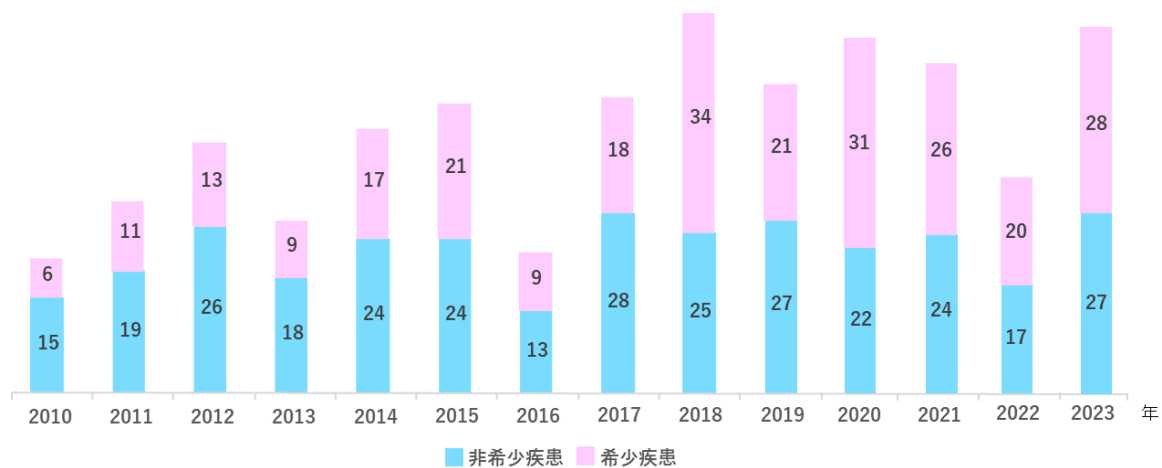


図1 FDAの承認新薬数の推移（FDA発表資料を元にARC作成）

55剤の新薬のうち35剤（64%）が、米国が最初の承認国となっている。前年の68%を下回った。55剤の新薬のうち、36剤（65%）が優先審査指定や画期的治療薬指定などのなんらかの審査優遇措置を受けていた。

23年を代表する画期的な医薬品として、アルツハイマー病治療薬Leqembi（lecanemab-irmb）が挙げられる。Leqembiは、アミロイドβに対する抗体医薬品で、初期のアルツハイマー病患者の病気の進行を抑制する。

FDAは、5剤のバイオシミラー（後発バイオ医薬品）を新たに承認した。これまでに承認されたバイオシミラーは45剤（先行バイオ医薬品14剤に対応）となる。またFDAは、処方した医師の承諾なしに薬局で変更可能とする互換可能バイオシミラーへの変更を2剤のバイオシミラーに対して認めた。FDAは、政策的にバイオ医薬品のバイオシミラーへの置き換えを推進している。

◆ 開発国の多様化が進み、米国以外が最多に

開発企業の本社（あるいは親会社）所在地では、米国が26剤（47%）、欧州が21剤（38%）、日本が4剤、その他が4剤（カナダ、中国、シンガポール、イスラエル各1剤）であった（図2左）。米国が、50%を割った。また、欧州でも、これまで創薬の中心地であった英国やスイス、フランス以外の国（イタリアやベルギーなど）が躍進した。世界の医薬品売上の約7割を占めるメガファーマ（売上高20位以内）あるいはその子会社の開発品は20剤（36%）となり、減少傾向が続いている。欧米の中小の製薬企業が創薬をけん引している。

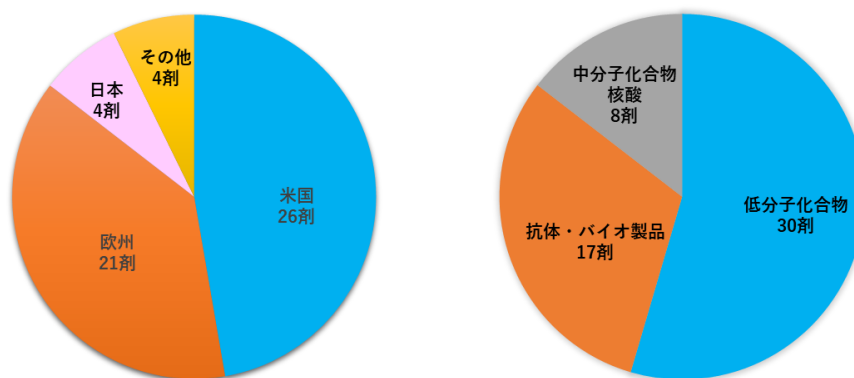


図2 FDA承認新薬の開発国と分子種の分布（FDA発表資料を元にARC作成）

◆ 改造抗体医薬品や様々な核酸医薬品など、創薬モダリティの多様化が進む

分子種としては、低分子化合物30剤（55%）、抗体・バイオ製品が17剤（30%）、中分子化合物と核酸8剤（15%）となっている（図2右）。抗体・バイオ製品17剤のうち9剤が抗体医薬品であるが、うち4剤が2種類の異なる抗原を認識する2重特異性抗体であり、新規な標的タンパク質に対するものは少ない。抗体医薬品は、抗体薬物複合体（ADC）や2重特異性抗体などの特殊な改造抗体医薬品の存在感が増している。

中分子化合物・核酸が8剤（ペプチド4剤、核酸4剤）と、22年の3剤から増加した。核酸は、アンチセンスが2剤、siRNAとRNAアプタマーが各1剤と、創薬モダリティ（治療手段）の多様化が進んでいる。「やせ薬」のZepbound（tirzepatide）は、23年に新剤型・新適応が承認された（有効成分のtirzepatideが、22年に2型糖尿病治療薬として承認）。Zepboundと先行薬のWegovy（Semaglutide）はペプチ

ド医薬品である。今後、類似のペプチド医薬品が増えていくと予想される。また、AIを用いた創薬技術の発達（ペプチドの立体構造を予測した設計が容易に）も、ペプチド医薬品の増加を後押ししている。

◆生物製品評価研究センター（CBER）の担当する遺伝子治療薬の状況

ところでFDAでは、医薬品の審査は2部署にまたがる。通常の医薬品（低・中分子医薬品や抗体・バイオ医薬品）を審査するのは医薬品評価研究センター（CDER）であり、前述の「New Drug Therapy Approvals 2023」を発行したのもCDERである。ワクチンや血液製剤、細胞・組織を用いた製品を審査するのは生物製品評価研究センター（CBER）である。mRNAワクチンやウイルスベクターを用いた遺伝子治療薬、糞便医薬品、免疫療法に用いるアレルゲン製品もCBERの管轄である。

FDA（CBERが審査）は、23年に5剤の遺伝子治療薬を承認した（表）。17年のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）3剤に始まり、コロナパンデミック後に大きく数を伸ばした（図3）。また23年には、ゲノム編集技術CRISPER/Cas9を初めて遺伝子改変に用いた遺伝子治療薬Casgevyが登場した。今後も遺伝子治療薬が増加していくと考えられる。 【毛利光伸】

表 23年にFDAが承認した遺伝子治療薬

商品名	一般名	適応疾患	承認年月
Vyjuvek	beremagene geperpavec-svdt	栄養障害型表皮水疱症	2023年5月
Roctavian	valoctocogene roxaparvovec-rvox	血友病A	2023年6月
Elevidys	delandistrogene moxeparvovec-rokl	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2023年6月
Casgevy	exagamglogene autotemcel	鎌状赤血球症	2023年12月
Zynteglo	lovotibeglogene autotemcel	鎌状赤血球症	2023年12月

（FDA発表資料を元にARC作成）

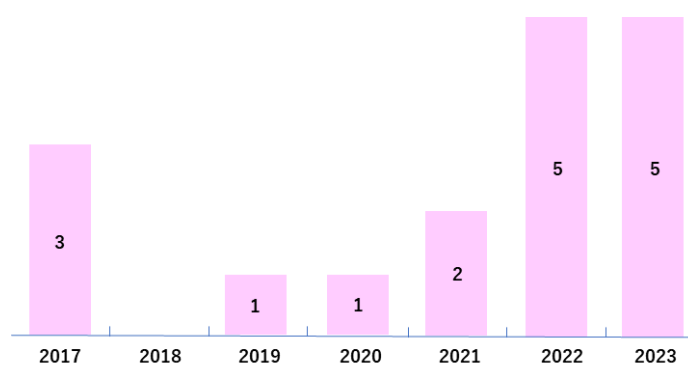


図3 遺伝子治療薬承認数の推移（FDA発表資料を元にARC作成）