

2024年の米国での新薬の承認状況とトレンド

◆2024年、米国で50剤の新薬が承認される

2025年1月、FDA（米国食品医薬品局）は、24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 2024」を発表した。FDAは24年に50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）。年間50剤前後の水準が続いている。50剤の新薬のうち、半数を超える26剤（52%）が希少疾患治療薬だった（図1）。

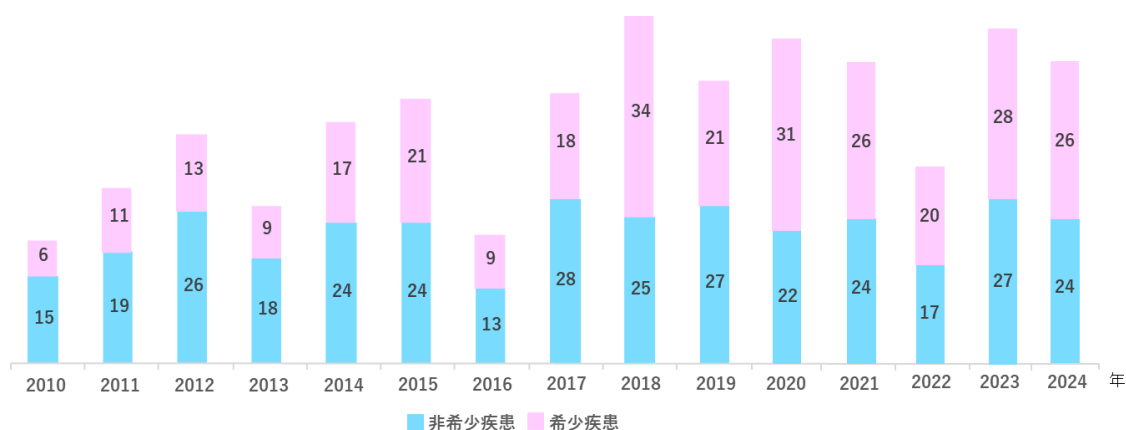


図1 FDAの承認新薬数の推移（FDA発表資料を元にARC作成）

50剤の新薬のうち34剤（68%）が、米国が最初の承認国となっている。前年の64%を上回った。50剤の新薬のうち、33剤（66%）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。

24年を代表する画期的な新薬として、統合失調症治療薬Cobenfyが挙げられる。Cobenfyは、従来の統合失調症治療の標的とされていたドーパミン受容体ではなく、コリン作動性受容体を標的とした新しい作用機序による治療薬である。

FDAは、18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63剤（先行バイオ医薬品17剤に対応）となる。

◆開発国は米国が最多、中小の製薬会社が創薬をけん引

開発企業の本社（あるいは親会社）所在地では、米国が27剤（54%）、欧州が18剤（36%）、日本、中国、韓国、インド、豪州が各1剤であった（図2左）。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12剤（24％）となり、減少傾向が続いている。欧米の中小製薬企業が創薬をけん引している。

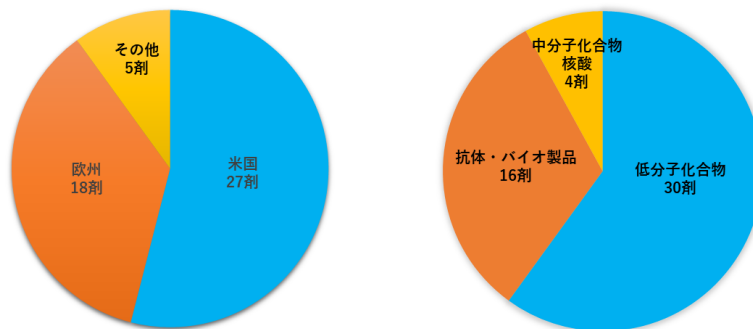


図2 FDA承認新薬の開発国と分子種の分布（FDA発表資料を元にARC作成）

◆コンピューターシミュレーションにより設計されたバイオ製品の存在感が増す

分子種としては、低分子化合物30剤（60％）、抗体・バイオ製品が16剤（32％）、中分子化合物と核酸4剤（8％）となった（図2右）。抗体・バイオ製品16剤のうち3剤が2種類の異なる抗原を認識する2重特異性抗体である。また2剤は、標的に結合するように分子設計された融合タンパク質である。抗体・バイオ製品では、従来の典型的な抗体とは異なり、コンピューターシミュレーションを用いて標的と結合するよう分子設計されたバイオ製品の存在感が増している。

中分子化合物・核酸が4剤（ペプチド2剤、核酸2剤）と、23年の8剤から減少した。核酸は、アンチセンスが1剤、オリゴヌクオレシドからなるテロメラーゼ阻害剤が1剤である。

◆生物製品評価研究センター（CBER）の担当する遺伝子治療薬などの状況

FDAでは、ワクチンや血液製剤、ウイルスベクターを用いた遺伝子治療薬、細胞・組織を用いた製品の審査を生物製品評価研究センター（CBER）が担当している。FDA（CBERが審査）は、24年に6剤の遺伝子治療薬を承認した（表）。17年に承認されたキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）3剤に始まり、順調に承認数が増加している（図3）。中でも、TECELRAは、初のTCR遺伝子改変T細胞（TCR-T）となる。CAR-Tが正常細胞とがん細胞の両方に発現している抗原を標的とするのに対

ハイライト

し、TCR-Tでは、がん固有抗原を標的としている。今後、がん固有抗原の解析が進むに従い、TCR-Tが増加していくものと考えられる。

表 24年にFDAが承認した遺伝子治療薬、細胞医薬と組織工学製品

商品名	一般名	適応疾患	承認年月	備考
CASGEVY	exagamglogene autotemcel	β サラセミア	2024年1月	遺伝子治療薬（ウイルスベクター ex vivo）
AMTAGVI	Lifileucel	悪性黒色腫	2024年2月	FDAが初承認した腫瘍浸潤T細胞療法
LENMELDY	atidarsagene autotemcel	異染色性白質ジストロフィー	2024年3月	遺伝子治療薬（ウイルスベクター ex vivo）
BEQVEZ	elaparovvec-dzkt	血友病B（第IX因子の欠損・異常）	2024年4月	遺伝子治療薬（ウイルスベクター in vivo）
TECELRA	afamitresgene autoleucel	滑膜肉腫	2024年8月	TCR遺伝子改変T細胞療法
Aucatzyl	obecabtagene autoleucel	B細胞由来急性リンパ性白血病	2024年11月	キメラ抗原受容体T細胞療法（CD19）
Kebilidi	eladocagene exuparvovec-tneq	芳香族L-アミノ酸脱炭酸酵素（AADC）欠損症	2024年11月	遺伝子治療薬（ウイルスベクター in vivo）
RYONCIL	remestemcel-L-rknd	ステロイド抵抗性急性移植片対宿主病	2024年12月	FDAが初承認した間葉系間質細胞療法
SYMVESS	acellular tissue engineered vessel-tyod	四肢動脈損傷時の代用血管	2024年12月	FDAが初承認した組織工学血管

（FDA発表資料を元にARC作成）

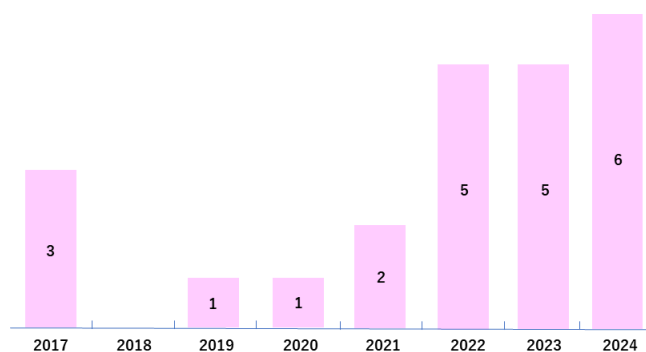


図3 遺伝子治療薬承認数の推移（FDA発表資料を元にARC作成）

24年に3つの新しい生物製品が承認された。SYMVESSは、組織工学（tissue engineering）を用いて作成した人工血管である。血管平滑筋細胞を中空状となるように培養後、細胞を除去し作製する。FDAが初めて承認した組織工学製品となる。AMTAGVIは、患者のがん腫瘍に浸潤しているT細胞を採取して増殖後、患者の体内に戻す腫瘍浸潤T細胞療法だ。これを、遺伝子工学を用いてより強力かつ確実にしたものがTCR-Tとなる。RYONCILは、間葉系間質細胞を用いた細胞医薬である。間葉系間質細胞は、人体に存在する多能性幹細胞の一種で、さまざまな細胞に分化することができる。ボランティアから採取した間葉系間質細胞を培養増殖後、患者体内に投与する。臓器移植などで生じる移植片対宿主病（GvHD）の治療薬として承認された。FDAが初めて承認した間葉系間質細胞製品となる。これらの生物製品は、20年以上前から開発が行われており、ようやく承認された感があるが、米国のヘルスケア産業の懐の深さを窺い知ることができる。【毛利光伸】