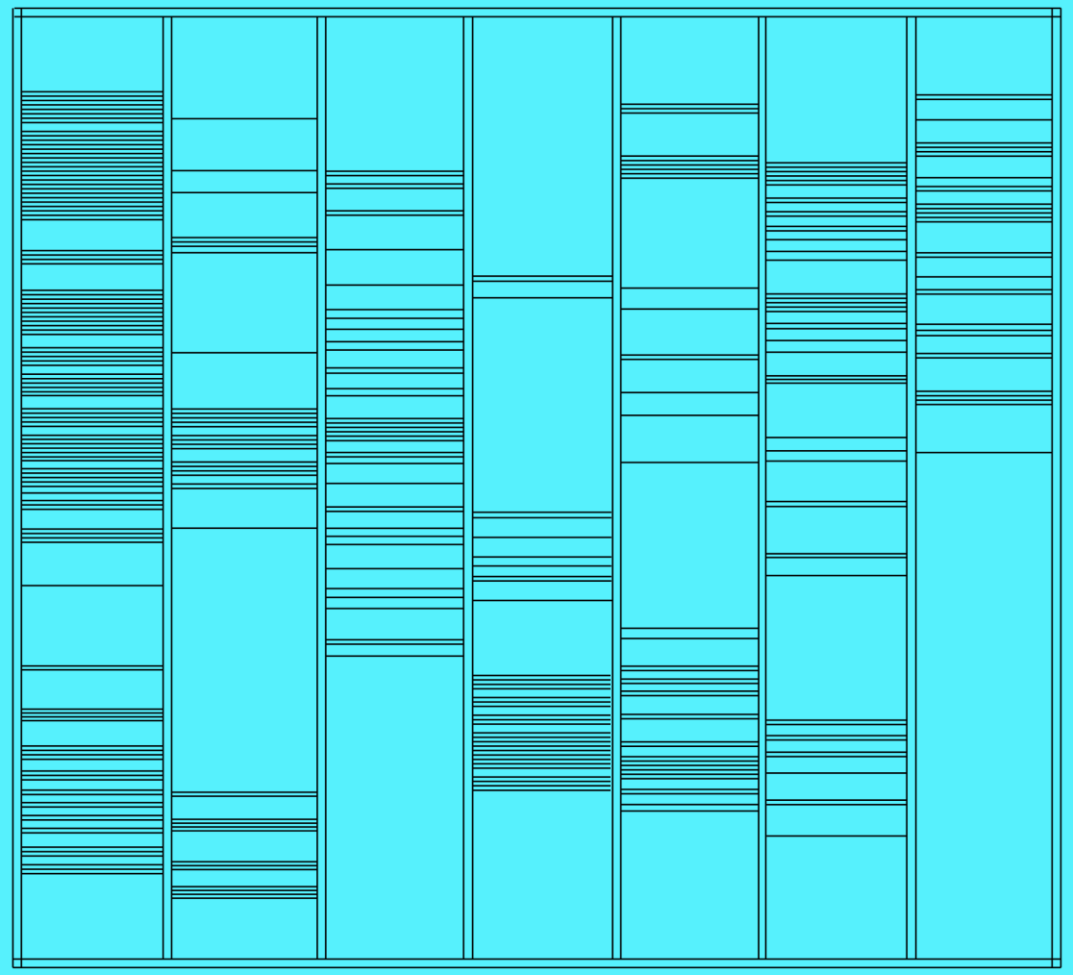
精密治療

病気を治すための医療の拡大



精密治療は、患者を中心に考え、症状ではなく病気の根本原因を標的とします。実験的でコンピューターを駆使した斬新な方法で設計された精密治療は、従来の治療法よりも早く進められ、かつ費用対効果も向上できる可能性があります。

AI（人工知能）、DNA・RNAのシーケンシング、CRISPR遺伝子編集、実験室の自動化といった技術の急速な進歩により、新しい治療法が生み出され、これまで難治とされていた疾患の治療が可能となってきています。精密治療ではマルチオミクスの活用が増えており、作用機序がDNA、RNA、タンパク質などにわたっています。

当社のリサーチによると、精密治療に特化する企業の企業価値は、2022年の約5,000億米ドルから年率29%で上昇し、2030年までに約3兆米ドルに達する可能性があります[1]。

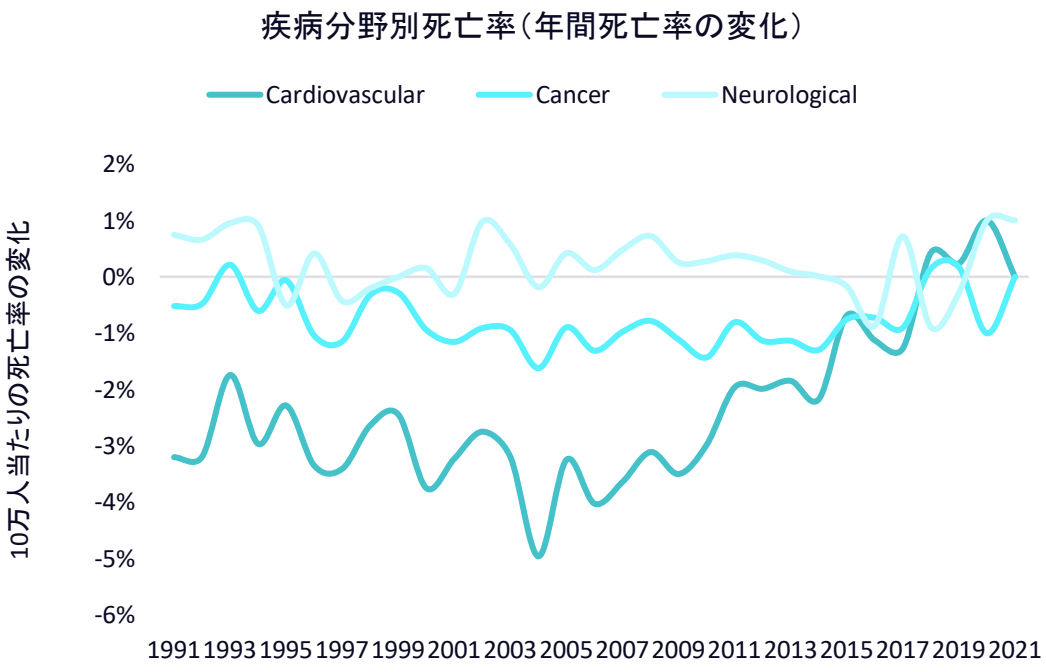
リサーチ担当者：Ali Urman（アナリスト）
Pierce Jamieson（リサーチアソシエート）

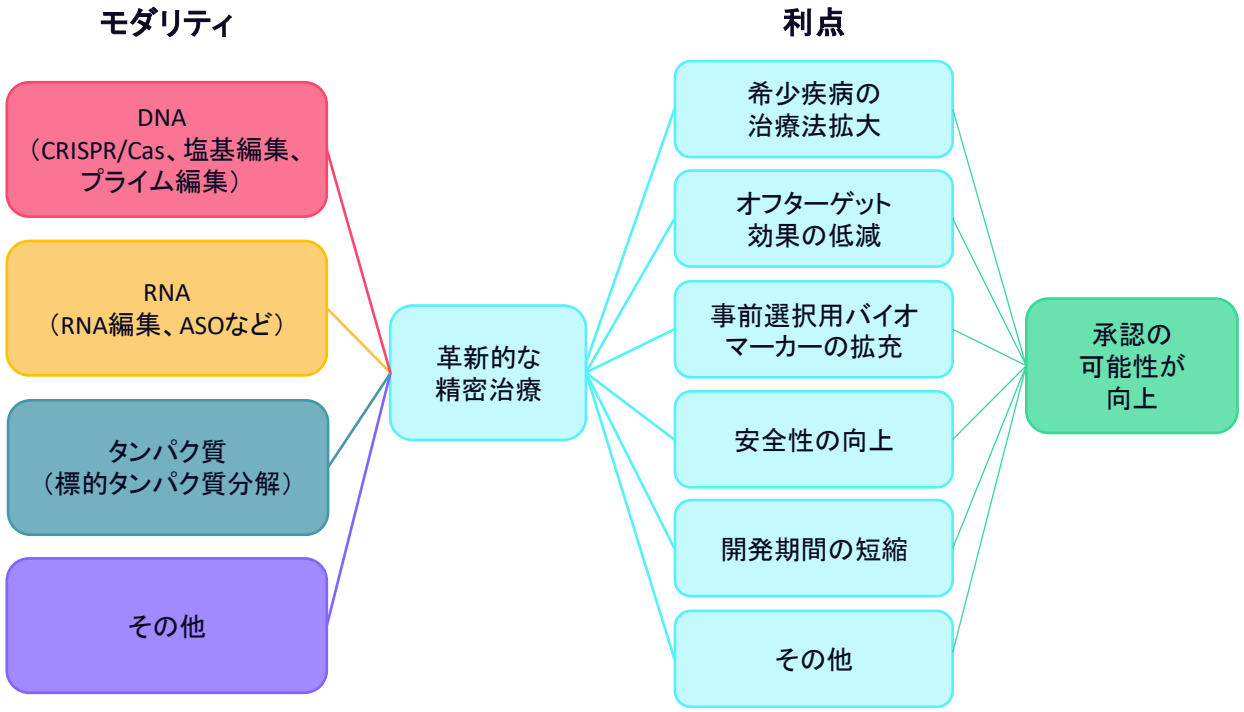
[1] 既存のパイプラインに基づく
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

医薬品業界にはイノベーションが必要

過去30年と異なり、ここ5年間はがんや心血管疾患に関する死亡率は大きな改善を見せておらず、既存のアプローチが収穫限界まで達していることを示唆しています（左下のグラフ参照）。新たに生まれてきている精密治療は最高クラスの治療法となり、神経系など多くの疾患にわたって死亡率を低下させられる可能性があります。

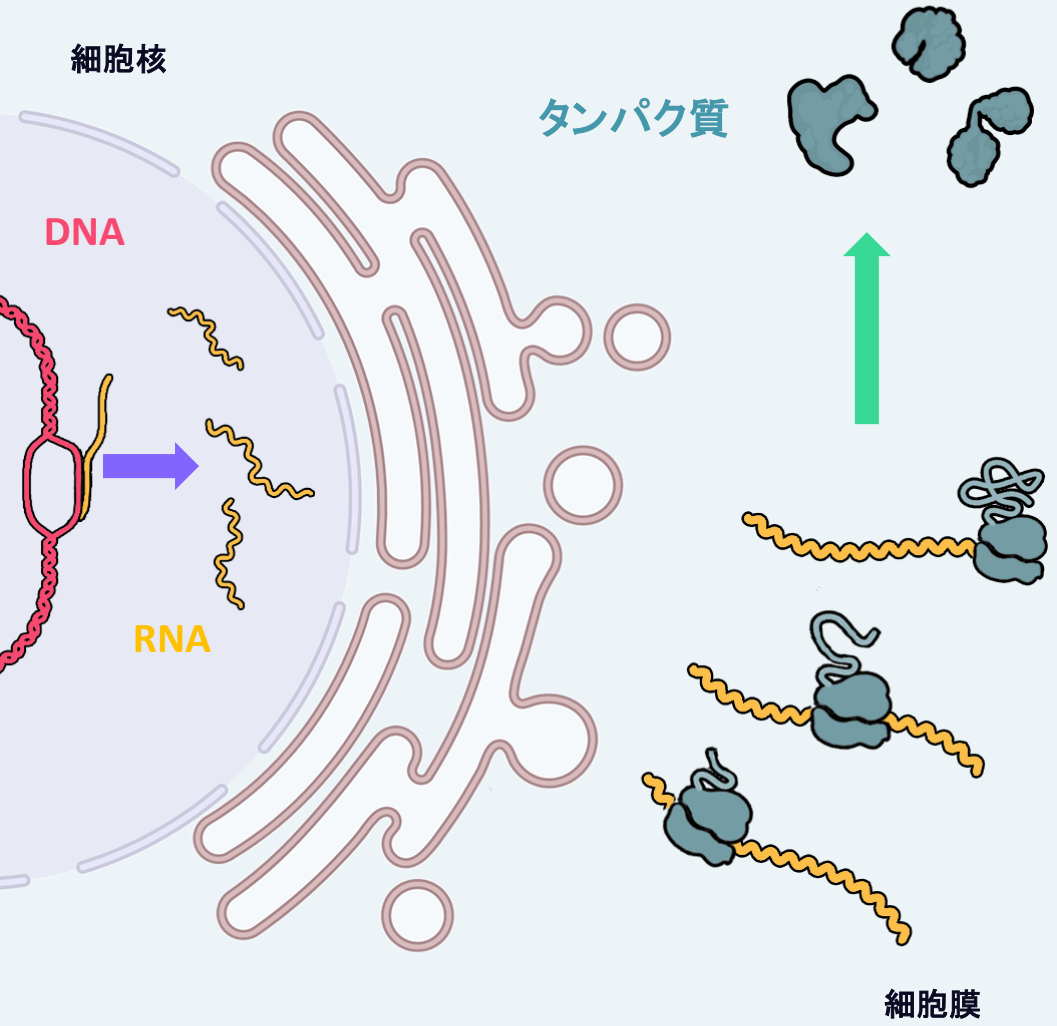
旧来の医薬品と比較して、革新的な精密治療には市場シェアに大きな変化をもたらし得る利点があります。精密治療はDNA、RNA、タンパク質などを標的とする技術によってツールキットが広がっており、研究者は様々な疾患に対しかつてないほど柔軟な形で取り組むことができます。



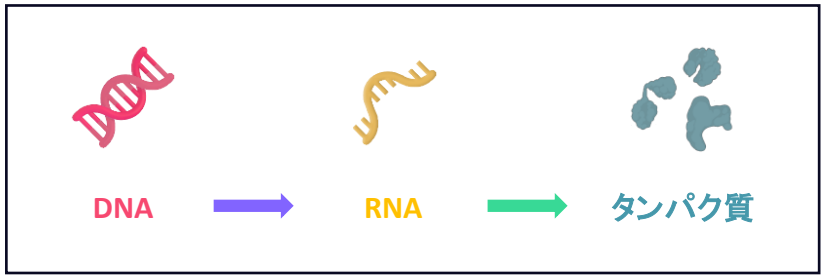


出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、世界保健機関（データは2023年1月17日時点）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

生物学のセントラルドグマ



セントラルドグマは生態系における情報の流れを示す概念です。私たちの細胞は、DNAを鋳型としてRNA分子を転写し、それがタンパク質へと伝えられます。この過程でDNAの突然変異が起こり、時として機能不全のタンパク質が作られます。
病気の原因は主にタンパク質ですが、精密治療では科学者はDNA、RNA、タンパク質などあらゆる分子を標的とすることができます。



治療の標的が増えれば、患者さんの治療結果も改善される可能性があると考えられます。

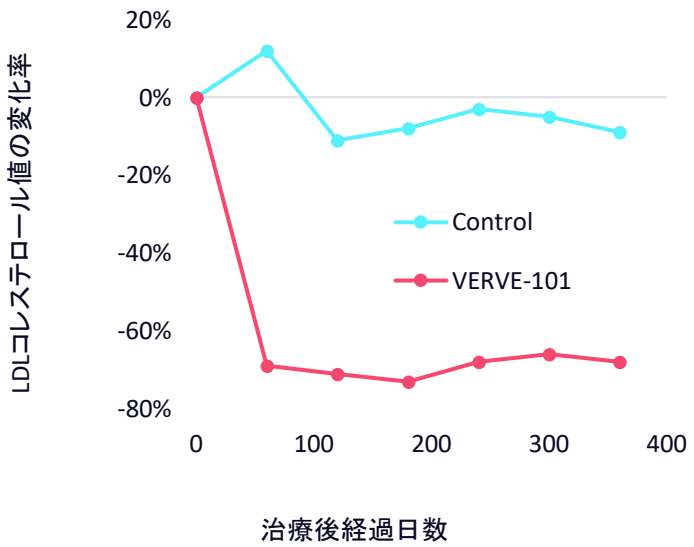
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、C. マローン（2007年）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

革新的な治療はセントラルドグマの各パートを標的としている

研究者は、遺伝子編集を用いてDNA[1]を標的にすることで心臓病を治療・予防したり、RNA[2]のサイレンシング（不活性化）によって多発性神経障害を制御したり、タンパク質[3]を分解して腫瘍の成長を抑制したりすることができます。

DNA

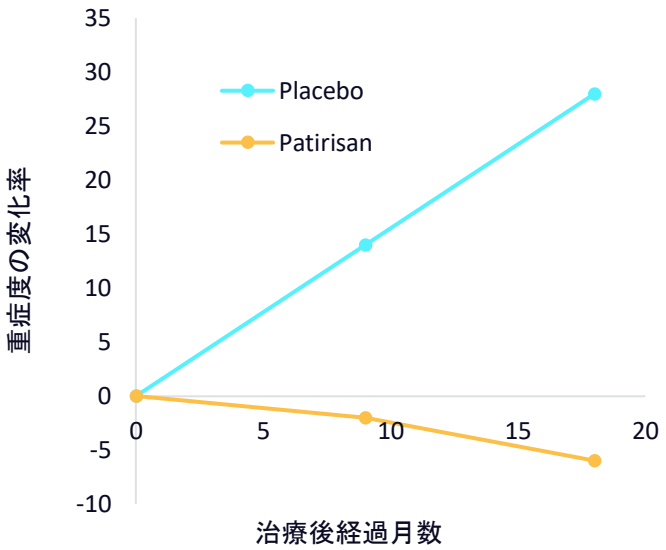
ヒト以外の霊長類では
DNA編集が心血管系疾患を予防



VERVE-101は、Verve Therapeuticsが臨床研究中の高コレステロール血症治療用遺伝子編集薬剤です。

RNA

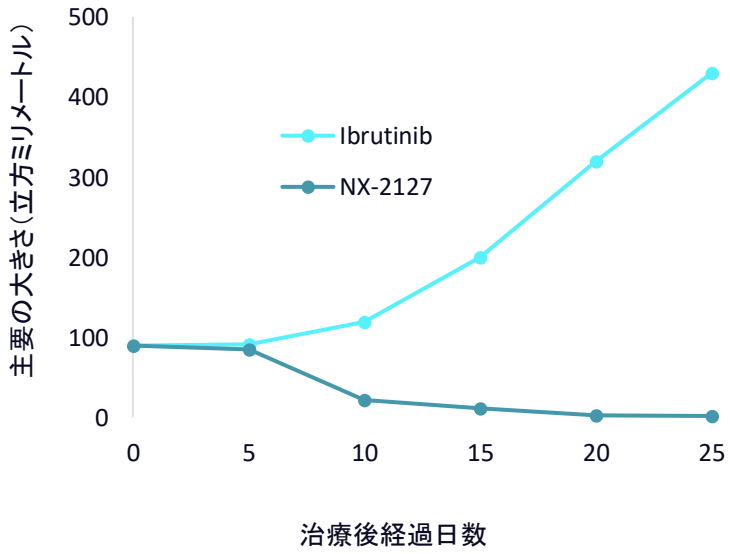
RNAサイレンシングは
神経疾患の治療に有効



Alnylam Pharmaceuticalsが開発したパティリサンは、多発性神経障害を引き起こす遺伝性ATTRアミロイドーシス治療薬として、最近米FDA（食品医薬品局）から承認されました。

タンパク質

標的タンパク質分解誘導薬が
腫瘍の成長を抑制



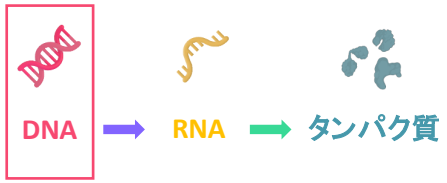
イブルチニブは複数種類のがんに用いられる低分子治療薬です。

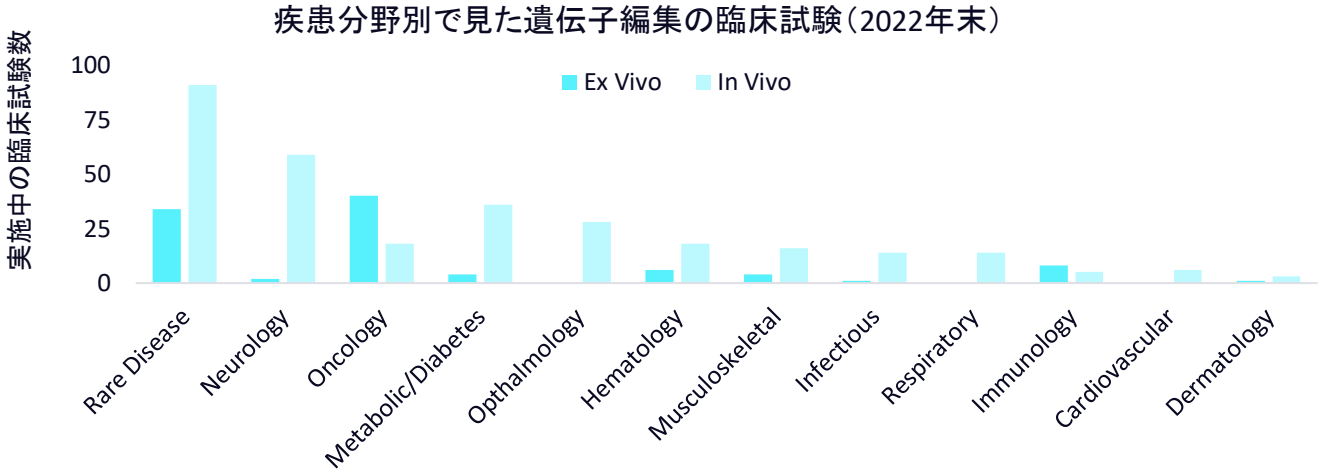
NX-2127はNurix Therapeuticsの標的タンパク質分解誘導薬で、現在臨床研究中です。

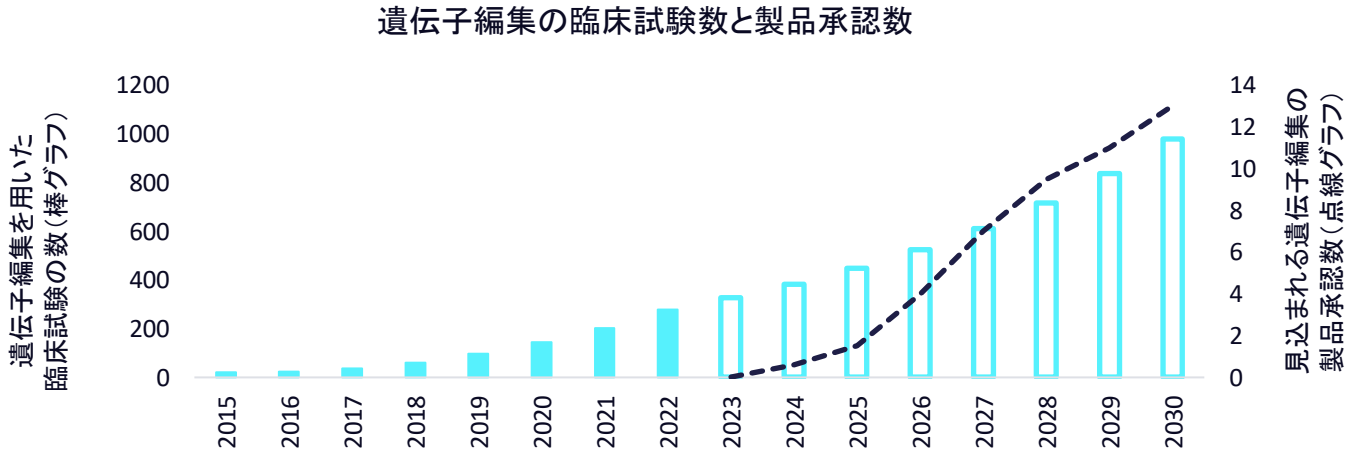
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）
[1] K. Musunuru他（2021年）; [2] D. Adams他（2018年）; [3] D. Robbins他（2020年）

商用化が近い遺伝子編集

- 遺伝子編集（遺伝子の組み換え・挿入・削除を行なうことができる技術）は、病気をその根源から食い止められる可能性があります。
- 遺伝子編集に基づく治療法は、希少疾患、神経疾患、がん、眼科などの分野で臨床応用されています。
- 一部の疾患では、患者の細胞を体外で組み換えてから移植するex-vivo（生体外）アプローチで十分です。しかし、より汎用性が高いのは患者の細胞を体内で組み換えるin-vivo（生体内）アプローチです。In-vivo遺伝子編集は、相対的に費用対効果が高く製造・量産が容易であり、肝臓や眼球、中枢神経系（CNS）、筋肉へのアクセスも可能となります。
- 遺伝子編集の臨床試験は10年後までに3倍に増える可能性があり、最初の製品承認が加速するとみられます（右下のグラフ参照）。

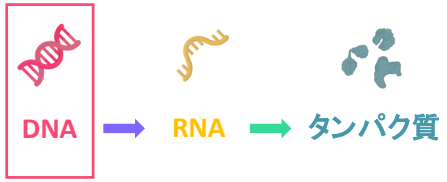






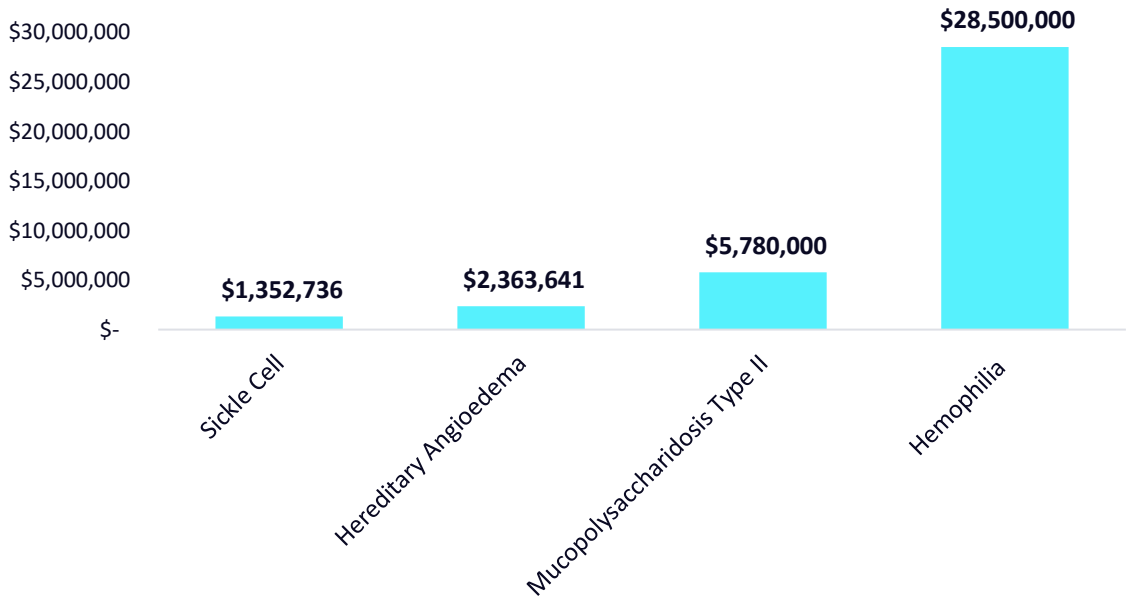
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、Biomedtracker（データは2023年1月17日時点）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

遺伝子編集治療はプレミアムでの価格設定を享受する可能性

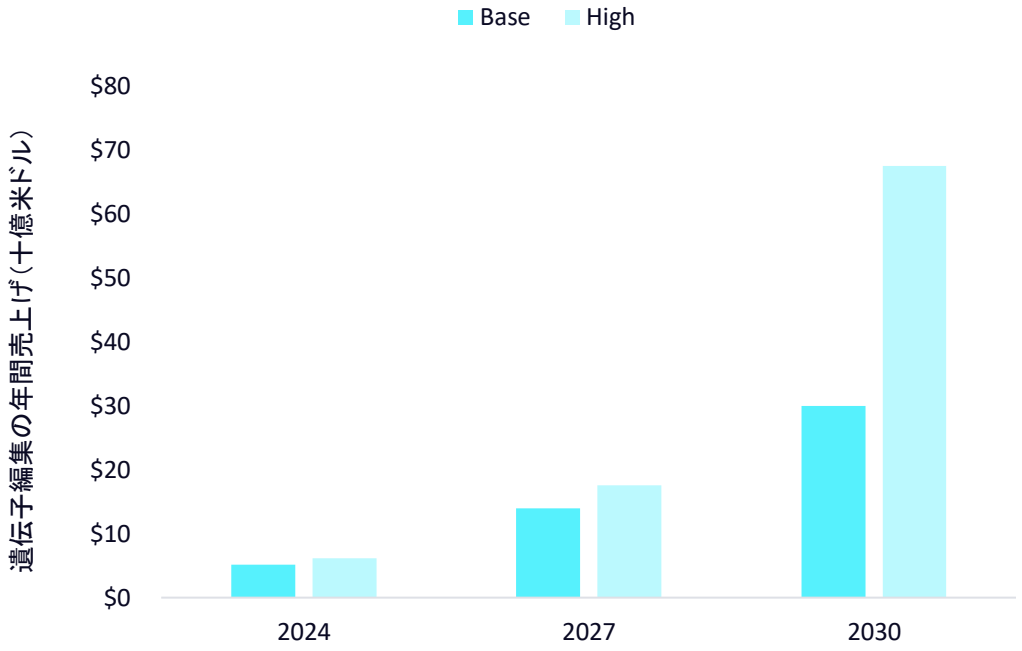


遺伝子編集治療の価格は中央値で約250万米ドル、特定の適応症ではそれ以上となる可能性があります。実際、最近承認された血友病Bの遺伝子治療は、1回当たりのコストが350万米ドルとなっています。当社の基本シナリオでは遺伝子編集の売上げを約300億米ドルと予想していますが、1型糖尿病などの疾患への適用が承認されれば、2030年までに600億米ドルにまで拡大する可能性があります。

遺伝性疾患の治療にかかる生涯直接費用



遺伝子編集の売上げ予想*

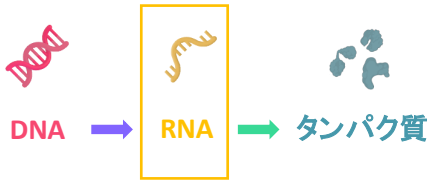


* この予想では、当該疾患の治療にかかる年間直接費用を15,000～34,000米ドル、患者の年齢層を20～50歳と想定しています。QOL（生活の質）や就労損失などの間接費用を考慮に入れれば、払い戻し額はさらに高くなる可能性があります。治療費の総額の算出にあたっては、年間直接費用を治療年数で平均しています。考えられる治療については、承認された薬剤の中央値を想定しています。

出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、A. Irvine（2019年）

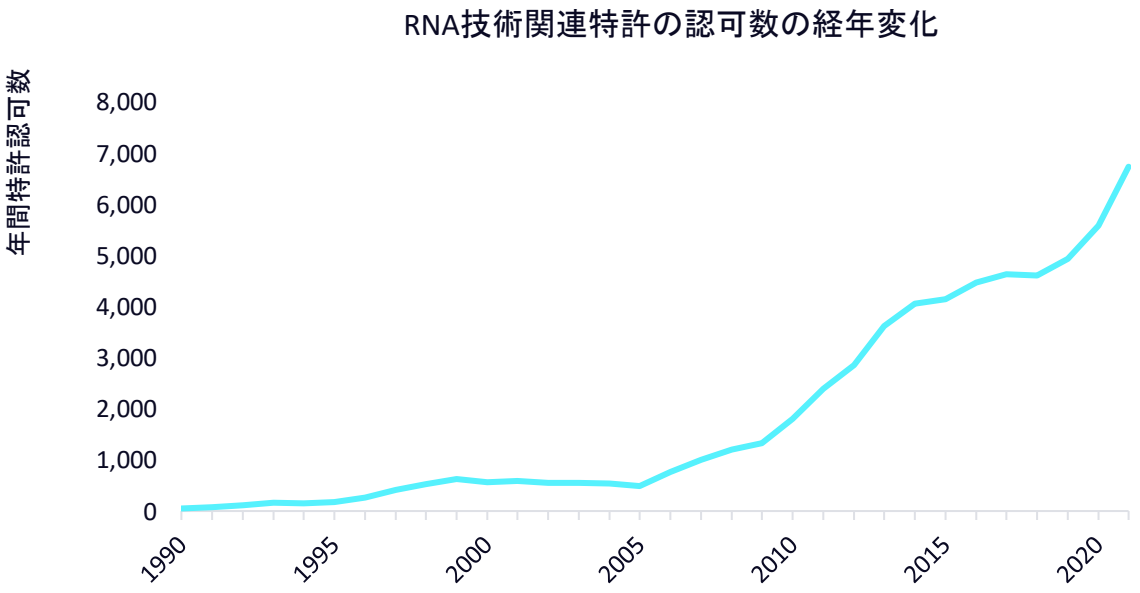
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

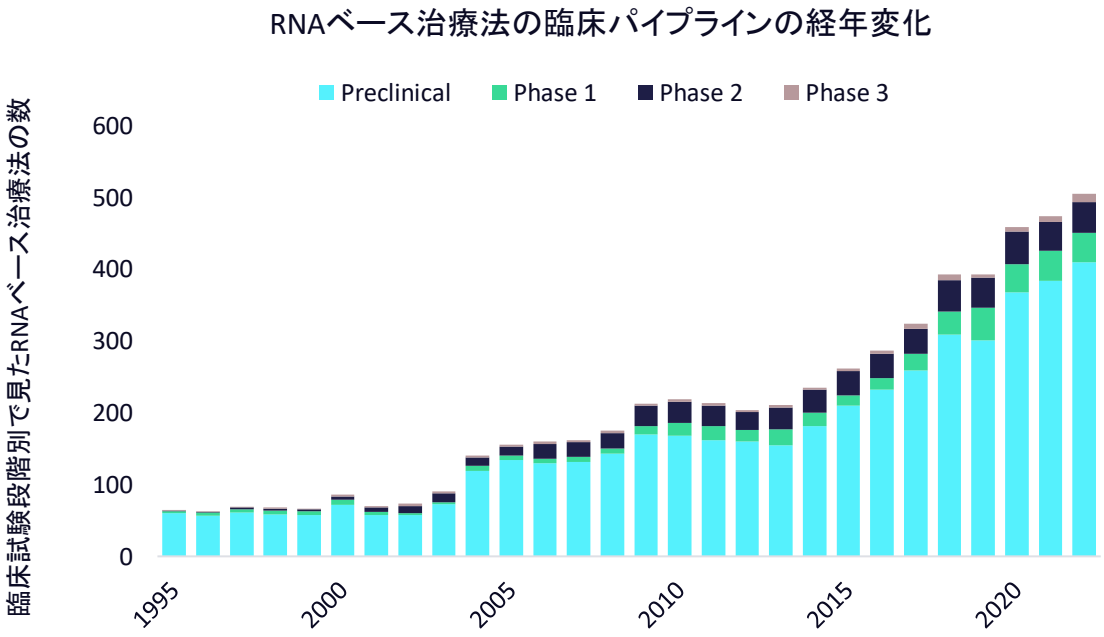
開発に拍車がかかるRNAベースの治療法



RNAベースの医薬品は、RNAや他の分子の構造・機能・量・局在を修正し、「薬が投与できない」標的を治療することができます。従来の低分子治療はタンパク質の活性結合部位を標的とするものですが、そのような部位があるタンパク質は14%にすぎず、RNAベースの医薬品はこのギャップを埋められる可能性があります[1]。

過去20年で、RNA関連の特許の認可件数は10倍に増えており、臨床パイプラインにあるRNAベースの治療法の数は約500件と5倍超に達しています。

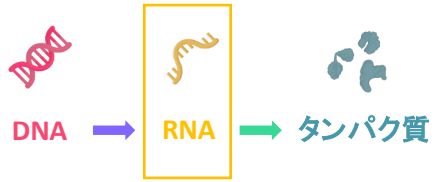




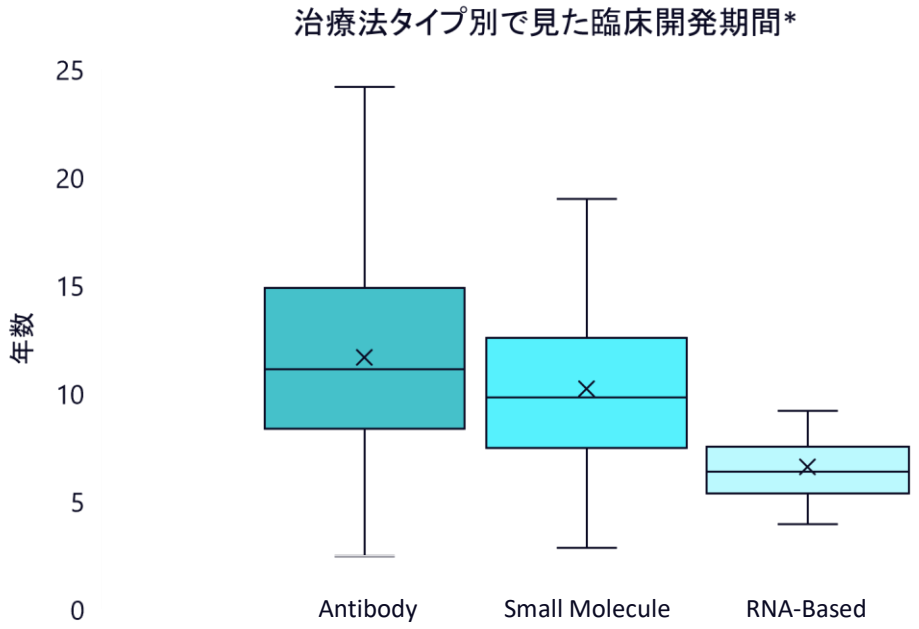
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、Clarivate（データは2023年1月17日時点）、Biomedtracker（データは2023年1月17日時点）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

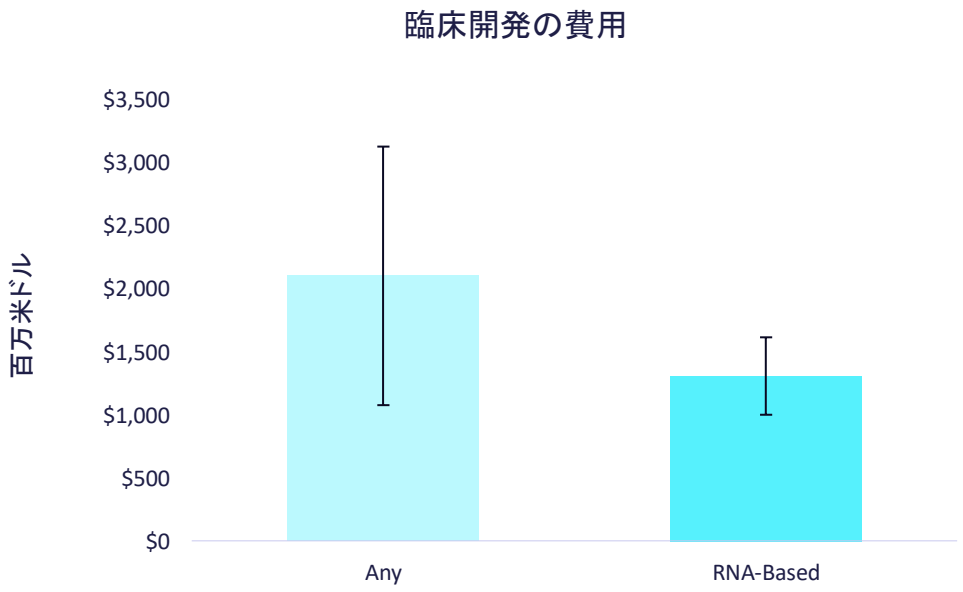
RNAベースの治療法によってコストが下がり市場投入までの時間が短縮化する見込み

商業化前の臨床開発は従来、失敗のコストを含め、平均20億米ドルの費用と10年の期間がかかってきました。次世代型シーケンシングやCRISPR遺伝子編集、人工知能といった近年のマルチオミクスにおける飛躍的進歩のおかげで、創薬の失敗率が低下し商業化にかかる時間が短縮化するとみられます。



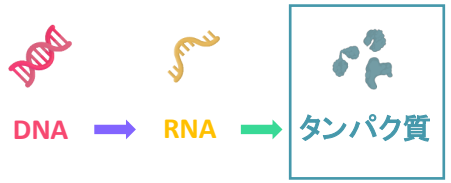
RNAベースの治療法は、他のモダリティに比べて生産にかかる時間と費用が少なく済みます。低分子治療薬や抗体の臨床試験には平均で20億米ドル超の費用と10年の期間がかかるのに対し、RNAベースの開発にかかる費用と期間は失敗を含め平均でそれぞれ12.5億米ドルと5年となります。





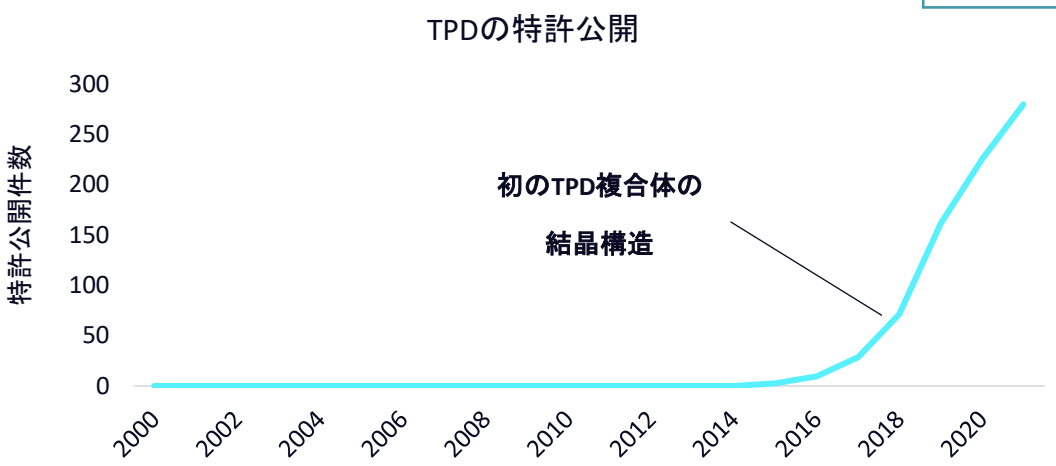
* エラーバーを含むデータを表示するのに使用される箱ひげ図で示しています。
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、O. Wouters他（2020年）、D. Brown他（2021年）、R. Lindeborg他（2021年）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

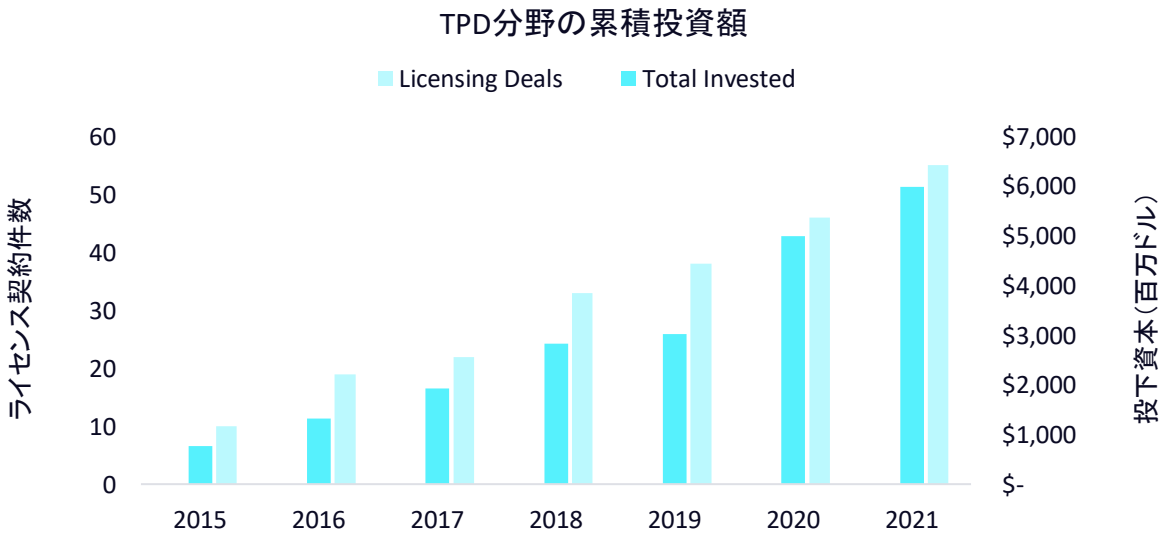
多くの病気を治療し得るTPD（標的タンパク質分解誘導薬）

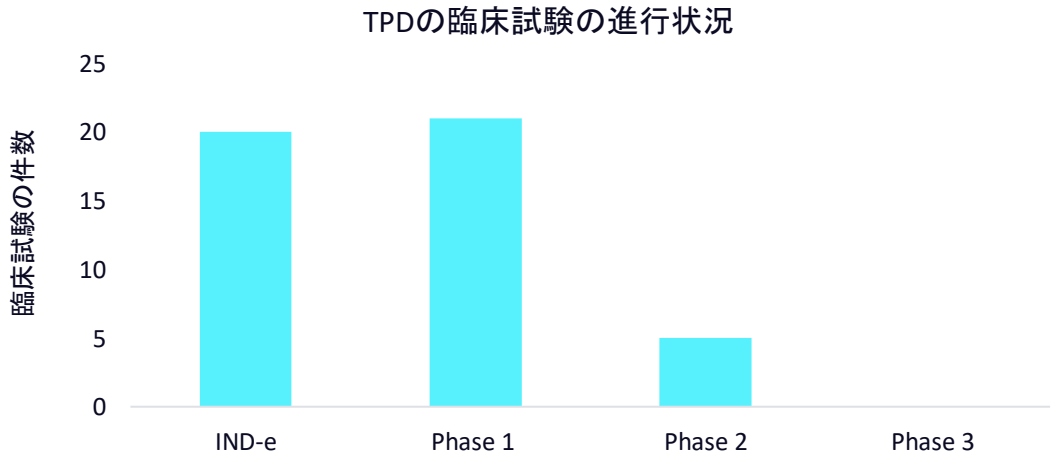


TPD（標的タンパク質分解誘導薬）は、体内のシステムを活用して病気の原因となるミスフォールド・タンパク質の数を減少させます。薬物投与が可能なタンパク質の数を2倍に増やしたTPDは、場合によっては細胞療法と組み合わせ、がんや自己免疫疾患、線維性疾患で臨床試験が進められています。

2015年～2020年の期間において、TPDの特許公開件数は10倍に増加しました。当社のリサーチによると、TPDの臨床試験の88%は初期段階にありますが、TPDのライセンス契約数は10倍を超える50件超に増加しています。

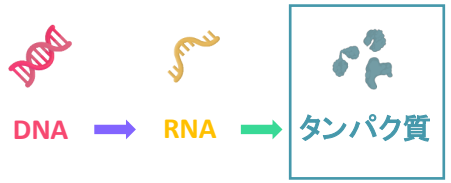






出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、T. Koppal他（2020年）M. Nasir他（2022年）、Biomedtracker（データは2023年1月17日時点）、K. Samarasinghe他（2021年）、M. Békés他（2022年）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

TPD療法は「薬が投与できない」プロテオームに対処し得る



研究中のタンパク質標的の半数以上がTPDで対処可能に

治療モダリティの利点	低分子阻害薬	TPD
薬物投与ができないタンパク質の治療	不可	可
反復的作用機序	不可	可
経口投与	可	可
製造容易性	容易	容易
前臨床検証	済	済
臨床検証	承認済	第II相

TPD（標的タンパク質分解誘導薬）によって、薬物治療が可能なヒトのタンパク質標的の数は2倍超に増加しました。

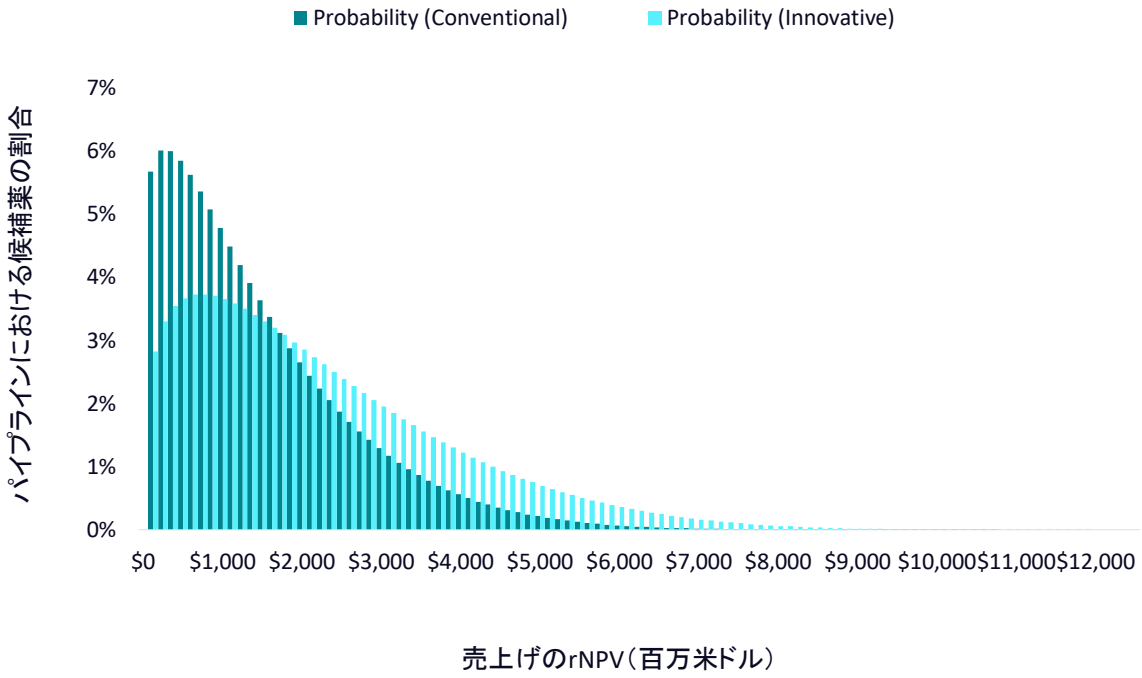
従来の低分子阻害薬が1つのタンパク質しか標的できないのに対し、TPDはその有効期間のあいだに1分子で何百もの標的タンパク質を分解することができます（反復的作用機序）。したがって、TPDは低分子治療薬に比べ安全性の面で非常に魅力的であると言えます。

出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、Biomedtracker（データは2023年1月17日時点）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。

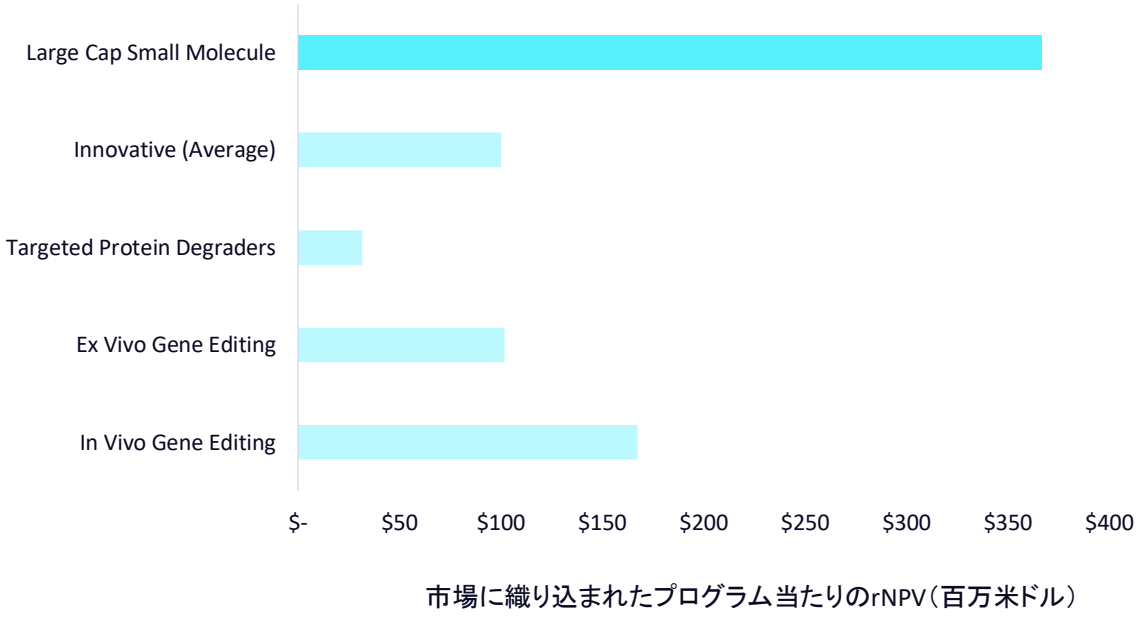
イノベーションが研究・開発の効率化のカギに

革新的精密治療は、低分子治療薬のような従来の治療法に焦点を当てた大手製薬会社に比べてrNPV（リスク調整後正味現在価値）の魅力度が高いにもかかわらず、過小評価されていると当社では考えています。当社のリサーチによれば、革新的精密治療企業の総企業価値は、2022年の約5,000億米ドルから2030年までに約3兆米ドルへと年平均成長率29%の拡大を見せると想定されます。

革新的医薬品はより魅力的なリスク調整後NPVを提供



革新的治療は伝統的な医薬品に比べて市場でほとんど評価されていない



* 標準化した進行ペースで計算
出所：ARK Investment Management LLC（2023年）、Biomedtracker（データは2023年1月17日時点）
予想は本質的に限界があり、依拠することはできません。上記は情報提供のみを目的としており、投資助言または特定の有価証券の売買・保有推奨とみなされるべきではありません。過去の実績は必ずしも将来の成果を示唆するものではありません。