

# Pictet Global Market Watch

## 年初来、好調な動きを示す遺伝子治療のバイオ医薬品企業

年初来、世界の株式市場は価格変動が大きな状況が続いていますが、一方で、遺伝子治療関連のバイオ医薬品企業の株価は堅調な動きとなっています。遺伝子治療は、遺伝性疾患だけでなく、がんや感染症など幅広い分野で研究開発が進められており、今後の開発、承認動向が注目されます。

### 遺伝子治療関連銘柄の株価は年初来で堅調に推移

世界の株式市場は、米国の金利急上昇や利上げペース加速の可能性に対する警戒感から2月に大きく下落し、その後もボラティリティ(価格変動)が大きな状況が続いています。このような環境にありながらも、遺伝子治療関連のバイオ医薬品企業の株価は、年初来で堅調な動きとなっています。

主な遺伝子治療関連のバイオ医薬品企業について、年初来の株価騰落率(2018年3月15日まで)をみると、ブルーバード・バイオが+20.5%、サレプタ・セラピューティクスが+46.0%、アベクシスが+18.7%、スパーク・セラピューティクスが+26.2%と、米国株式の+2.8%を大幅に上回る上昇となっています(図表1参照)。

### そもそも遺伝子治療とはなにか？

遺伝子治療とは、患者の細胞に外から遺伝子を補充、付加することで、病気を治療する方法のことで、様々な疾患での研究が進んでいます(図表2参照)。

遺伝子の変異や遺伝子の欠損が原因の病気(遺伝子疾患)に対しては、正常な遺伝子を補充することで治療効果が得られることから、遺伝子治療は有望な治療法といわれています。

また、遺伝子の変異や欠損が原因の病気以外(がんや感染症、心血管疾患、神経疾患、眼疾患など)に対しても、研究が進められています。たとえばがんの場合では、がん細胞を抑制する遺伝子を組み込むことなどでがんの増殖を抑えます。2017年8月に承認され注目を集めたキメラ抗原受容体T細胞(CAR-T)療法も、がんの遺伝子治療の一種です。

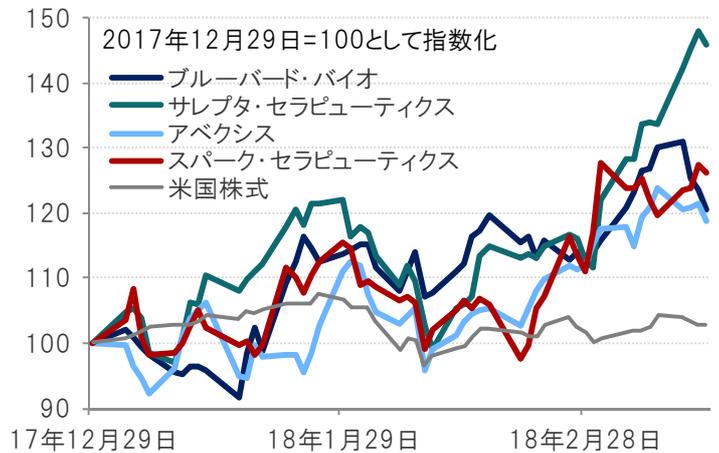
また神経疾患のひとつで、神経伝達物質ドパミンの減少することで起こるパーキンソン病では、ドパミンの合成に必要な酵素の遺伝子を神経細胞に導入するという方法が研究されています。

<次ページに続く>

※将来の市場環境の変動等により、当資料記載の内容が変更される場合があります。

図表1:年初来の主な遺伝子治療関連企業と米国株式の株価推移

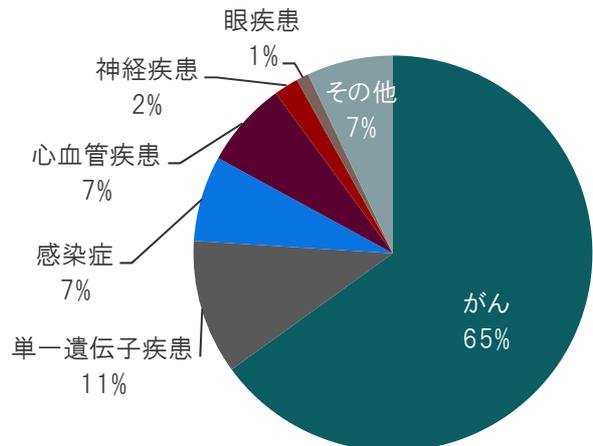
ドルベース、日次、期間:2017年12月29日~2018年3月15日



※米国株式:S&P500種株価指数  
出所:ブルームバーグのデータを使用しピクテ投信投資顧問作成

図表2:遺伝子治療の対象疾患

2017年11月時点



出所:国立医薬品食品衛生研究所のデータを使用しピクテ投信投資顧問作成

記載されている個別の銘柄・企業については、あくまでも参考であり、その銘柄・企業の売買を推奨するものではありません。また、当資料におけるデータは将来の運用成果等を示唆あるいは保証するものではありません。

## 遺伝子治療の方法

遺伝子治療は、ベクターといわれる遺伝子の運搬役を用いて他の遺伝子(DNA)を外から体内にあるいは細胞内に導入することで、治療を行います。なおベクターには、ウイルスや小さなDNAなどが用いられます。ウイルスの場合は、ウイルスが細胞に感染する機構などを利用して、細胞内に目的の遺伝子を導入します。細胞内に正常な遺伝子を導入する方法として、体内(In Vivo)遺伝子治療と体外(Ex Vivo)遺伝子治療があります(図表3参照)。体内(In Vivo)遺伝子治療では、遺伝子の運搬役であるベクターを体内に直接投与し、体内で細胞内に正常な遺伝子を導入します。一方、体外(Ex Vivo)遺伝子治療では、標的となる細胞を体内から取り出し、体外でベクターにより細胞内に遺伝子を導入します。その後、遺伝子導入細胞を培養、増幅したあとで、体内に戻すことで、治療を行います。

## 主な遺伝子治療関連銘柄のパイプライン

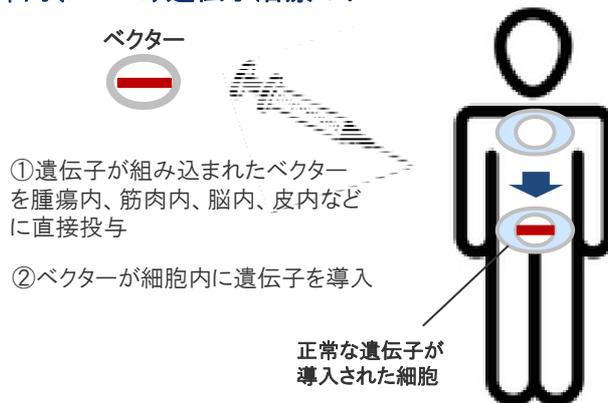
主な遺伝子治療関連銘柄のパイプラインを見てみると(図表4参照)、ブルーバード・バイオは、セルジーンと共同で臨床を進めている多発性骨髄腫のCAR-T療法その他、サラセミアや副腎白質ジストロフィーでも研究が進み、今年から来年にかけて承認申請がされると見られています。アベクシスは2021年には売上高が10億ドル(約1,060億円)超となると予想されている脊髄性筋萎縮症(SMA)1型について治験がフェーズ3まで進んでいます。その他、既にデュシエンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の治療薬を有しているサレプタ・セラピューティクスは、フランスの非営利団体と共同開発で提携しDMDの遺伝子治療の開発を積極的に進めているほか、スパーク・セラピューティクスはレーバー先天性黒内障の遺伝子治療で2017年に承認を受けており、血友病Bについてもフェーズ1/2治験まで研究が進んでいます。遺伝子治療については、遺伝子が染色体に挿入されることによる発がんの可能性や治療費が高額となるなど様々な課題がある一方、治療効果は高いものが多く、注目の高い治療といえます。現時点で、承認された遺伝子治療は少数ですが、幅広い分野で研究開発が進んでいます。開発には高い専門性が必要となることから、他からの参入は容易でなく、臨床試験の進展や承認などの発表があった場合には株価にとって大きなプラス要因になると考えます。また高い専門性と有望なパイプラインを抱える遺伝子治療関連企業は、大手の医薬品企業などによりM&A(合併・買収)のターゲットとなる可能性もありそうです。

### 当資料をご利用にあたっての注意事項等

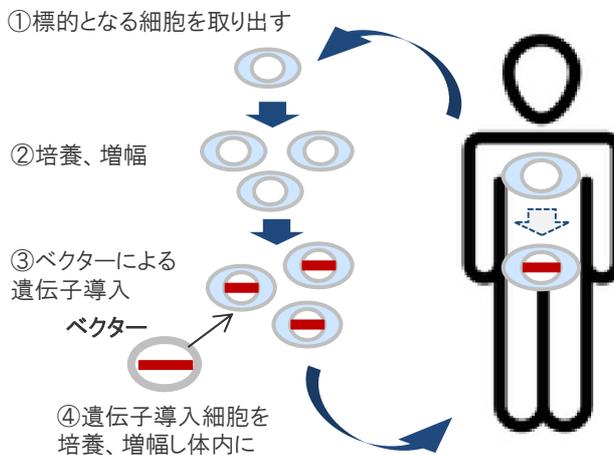
●当資料はピクテ投信投資顧問株式会社が作成した資料であり、特定の商品の勧誘や売買の推奨等を目的としたものではなく、また特定の銘柄および市場の推奨やその価格動向を示唆するものではありません。●運用による損益は、すべて投資者の皆さまに帰属します。●当資料に記載された過去の実績は、将来の成果等を示唆あるいは保証するものではありません。●当資料は信頼できると考えられる情報に基づき作成されていますが、その正確性、完全性、使用目的への適合性を保証するものではありません。●当資料中に示された情報等は、作成日現在のものであり、事前の連絡なしに変更されることがあります。●投資信託は預金等ではなく元本および利回りの保証はありません。●投資信託は、預金や保険契約と異なり、預金保険機構・保険契約者保護機構の対象ではありません。●登録金融機関でご購入いただいた投資信託は、投資者保護基金の対象とはなりません。●当資料に掲載されているいかなる情報も、法務、会計、税務、経営、投資その他に係る助言を構成するものではありません。

図表3: 遺伝子治療の方法(イメージ図)

### 体内(In Vivo)遺伝子治療のケース



### 体外(Ex Vivo)遺伝子治療のケース



出所: 国立医薬品食品衛生研究所のデータを使用しピクテ投信投資顧問作成

図表4: 主な遺伝子治療のパイプライン

会社名	疾患名/臨床段階
ブルーバード・バイオ	副腎白質ジストロフィー フェーズ2/3 サラセミア(溶血性貧血) フェーズ3 多発性骨髄腫 フェーズ1/2 鎌状赤血球貧血 フェーズ1/2
サレプタ・セラピューティクス	デュシエンヌ型筋ジストロフィー フェーズ1
アベクシス	脊髄性筋萎縮症(SMA)1型 フェーズ3 脊髄性筋萎縮症(SMA)2型 フェーズ1
スパーク・セラピューティクス	レーバー先天性黒内障 承認済 血友病B フェーズ1/2

出所: 国立医薬品食品衛生研究所のデータを使用しピクテ投信投資顧問作成

記載されている個別の銘柄・企業については、あくまでも参考であり、その銘柄・企業の売買を推奨するものではありません。また、当資料におけるデータは将来の運用成果等を示唆あるいは保証するものではありません。

※将来の市場環境の変動等により、当資料記載の内容が変更される場合があります。