



2024年10月10日

各 位

会社名 アンジェス株式会社  
代表者名 代表取締役社長 山田 英  
(コード：4563 東証グロース)  
問合せ先 広報・IR グループ  
<https://www.anges.co.jp/contact/>

## 遺伝子治療用製品「コラテジェン」がブレイクスルーセラピーに指定された効果について

2024年9月18日に発表いたしました「遺伝子治療用製品「コラテジェン」が米国FDAよりブレイクスルーセラピー(画期的新薬)指定のお知らせ」において、当社が米国において開発している遺伝子治療用製品「コラテジェン」が米国食品医薬品局(FDA)よりブレイクスルーセラピーに指定されたことをお知らせいたしました。ブレイクスルーセラピーに指定されたことで、「コラテジェン」の今後の開発にどのような影響が出るのか、その効果や見通しについてお知らせいたします。

ブレイクスルーセラピー(Breakthrough Therapy Designation)は、FDAにより、重篤な症状の治療を目的とした薬剤の開発と審査を迅速化するために設計された制度で、この指定を受けたことは、臨床試験の結果により、その薬剤が臨床的に重要な評価項目において既存の治療法よりも顕著な改善を示す可能性があることと認められたこととなります。

米国において、2019年10月1日から2024年6月30日の間にブレイクスルーセラピー指定の申請がなされた全577件のうち、指定が承認されたのは222件で、全体の約38%でした。中でもコラテジェンを含む生物由来製品については、2023年10月1日から2024年6月30日までの直近9か月間に指定されたものは13件中わずか3件で全体の約23%と、ブレイクスルーセラピーの指定を受けること自体が非常に難しいことがわかります。<sup>※1</sup>

これまでにブレイクスルーセラピー指定を受けた製品を調べてみると、審査期間の短縮と承認確度の向上が期待できます。

具体的には、FDAの2021年及び2022年の審査期間(中央値)は、標準的な審査の場合には2021年度が12.1ヵ月、2022年度が14.5ヵ月であるのに対して、ブレイクスルーセラピー指定を受けた場合の審査期間は、それぞれ8.0ヵ月及び11.5ヵ月と3~4ヵ月短縮されており、より短期間に承認されています。

※2

また、ブレイクスルーセラピー指定制度が始まった2012年7月9日から2024年6月30日までの12年間にブレイクスルーセラピー指定を受けた587件のうち、指定を受けた各企業等の公開情報から抽出した483件の現在の状況を調べると、328件(約68%)が承認を取得しており、現在も臨床試験や申請の最中であるものを除き、開発中止(6年以上Updateがないものを含む)に至ったものは僅か37件(約8%)です。この承認確率は、コラテジェンと同様に第II相臨床試験が終了して以降の一般的な承認確率約46%(2019年から2023年の平均値<sup>※3</sup>)と比べると極めて高いことがわかります。<sup>※1</sup>

このように、今回「コラテジェン」がブレイクスルーセラピーの指定を受けたことにより、今後の審査機関の短縮、また、申請した場合に承認される確率が一般的な製品よりも高いことが推測されます。

なお、今回のブレイクスルーセラピーの指定に伴う当連結会計年度における連結業績予想に変更はありません。

以 上

※1 FDA ホームページより

※2 日本製薬工業協会ニュースレター2024年3月号 No.220 より

※3 「Global Trends in R&D 2024: Activity, productivity, and enablers (Copyright©2024 IQVIA)」をもとに算出