

# バイオテクノロジーを活用した 更なる医療イノベーションの加速化

～時代に合った日本型エコシステムの実現に向けて～

平成28年5月

経済産業省  
商務情報政策局

# **バイオテクノロジーの進展により 実現されつつある新しい医療**

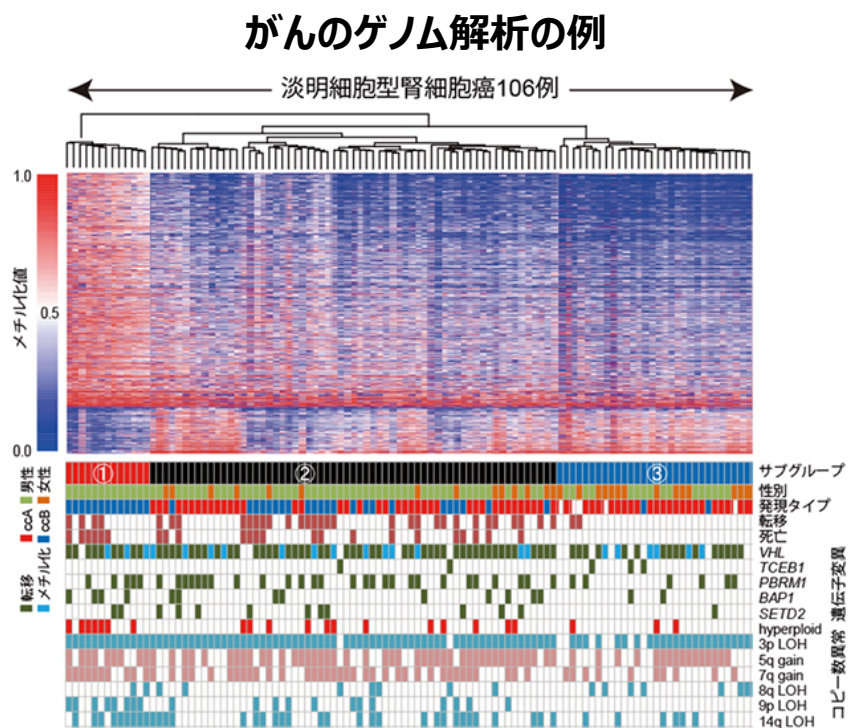
# 足下のバイオテクノロジーの革新（医療分野への影響）

- 近年のバイオテクノロジーの革新は医療分野においても大きな影響を及ぼしつつある。

## ○情報の集積（ゲノム解読技術の進展）

**次世代シーケンサー**（DNA解析装置）の開発により『より早く、より安く』ゲノム情報の解読が実現。

→ 膨大なゲノム研究の結果、遺伝子変異のタイプに応じて患者を層別化することにより、各患者に最適な治療法を判断することが可能になった。



画像引用：京都大学ウェブサイトより

## ○生物機能の発現（遺伝子改変技術の進展）

人工的に**遺伝子を改変する技術**の発展により、タンパク質等の複雑な物質の生産が実現。

→ 複雑な構造を持つバイオ医薬品等の生成や、iPS細胞を活用した再生医療が可能になった。



## ○情報の分析（情報解析技術の進展）

**バイオテクノロジーと情報解析技術の融合**により、複雑な生体现象と疾患との関連の解明が実現。

→ 血液中の成分やタンパク質の組成の変化の分析により、疾患の超早期発見が可能になった。

# 次世代の医療への取り組みと、研究領域の多様化・専門化

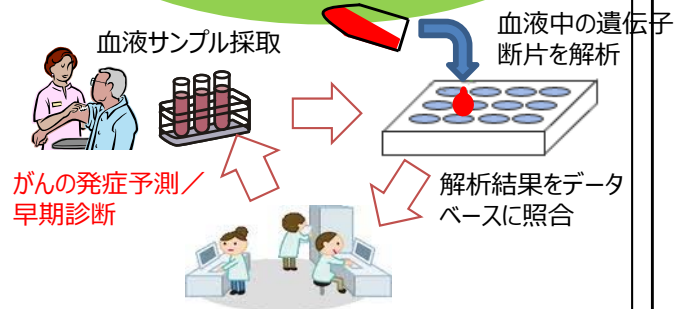
- 技術の発展に伴い、従来から重要性が指摘されていた個別化医療、先制医療、再生医療等の新しい医療が現実のものになりつつある。

## 医療における課題を解決

病気の発見が遅れて重症化  
治療が困難に

### 先制医療 Pre-emptive medicine

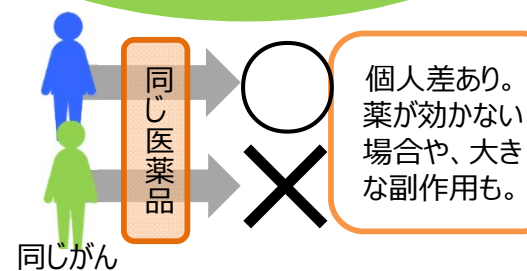
超早期に発見することで、最小限  
の治療で回復させることが可能に



同じ医薬品でも  
効果・副作用の個人差大

### 個別化医療 Personalized medicine

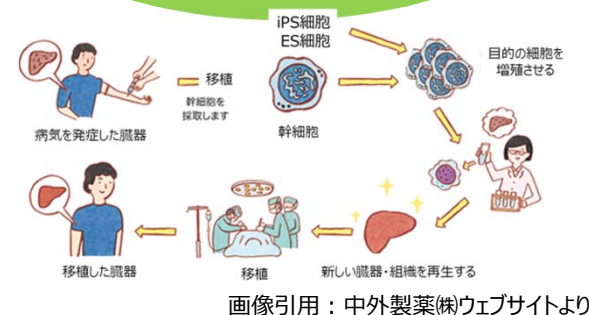
個人差に基づいて副作用の  
少ない、がん治療等の実現



医薬品では原理的に  
治療が困難な疾患

### 再生医療 Regenerative medicine

従来完治が難しかった脊髄  
損傷などの根本治療の実現



画像引用：中外製薬(株)ウェブサイトより

バイオテクノロジーの発展

創薬に必要な領域が多様化・専門化

# バイオテクノロジーの進展により 転換が迫られる医療イノベーション方式

# 技術の進展が迫るイノベーション方式の転換

- バイオテクノロジーの発展は、新しい医療を実現した一方、新しいイノベーション方式への転換の必要性も明らかに。

従来の医薬品開発  
(低分子化合物のみ)

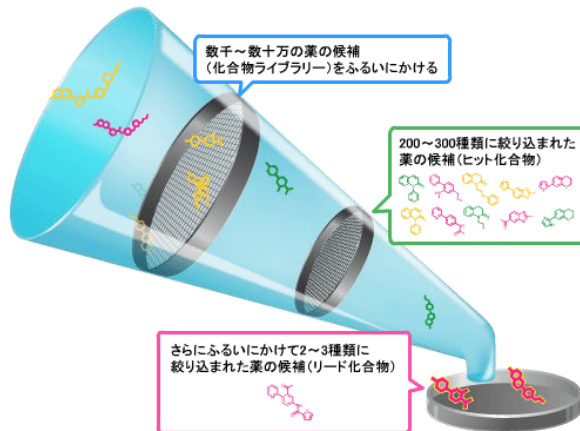
知識、経験、勘

- 化学合成により多種多様な化合物を合成。
- 限られた研究手法の中で、莫大な回数の試行錯誤を行う。

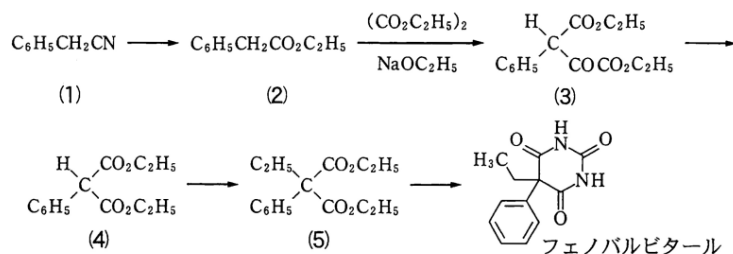
現在の医薬品開発  
(抗体医薬等)

プラットフォームの選択、技術開発

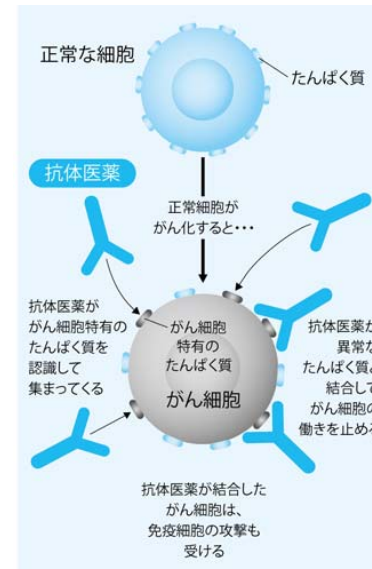
- バイオテクノロジーの発展により、化学ではなく生物を活用した医薬品が可能に。
- 医薬品のプラットフォームの種類が拡大しており、その選択や技術開発が重要なテーマに。



画像引用：カルナバイオサイエンス(株)ウェブサイトより

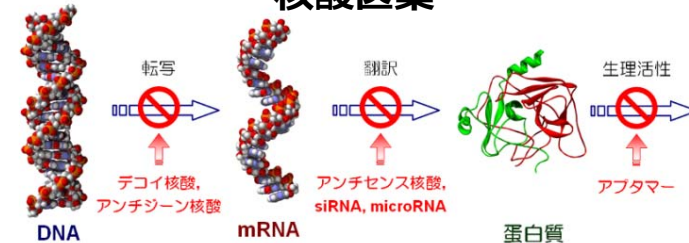


## 抗体医薬



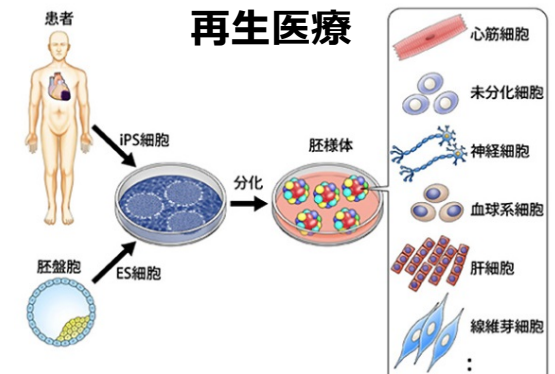
画像引用：日本製薬工業協会ウェブサイトより

## 核酸医薬



画像提供：東京理科大学薬学部・和田猛教授

## 再生医療

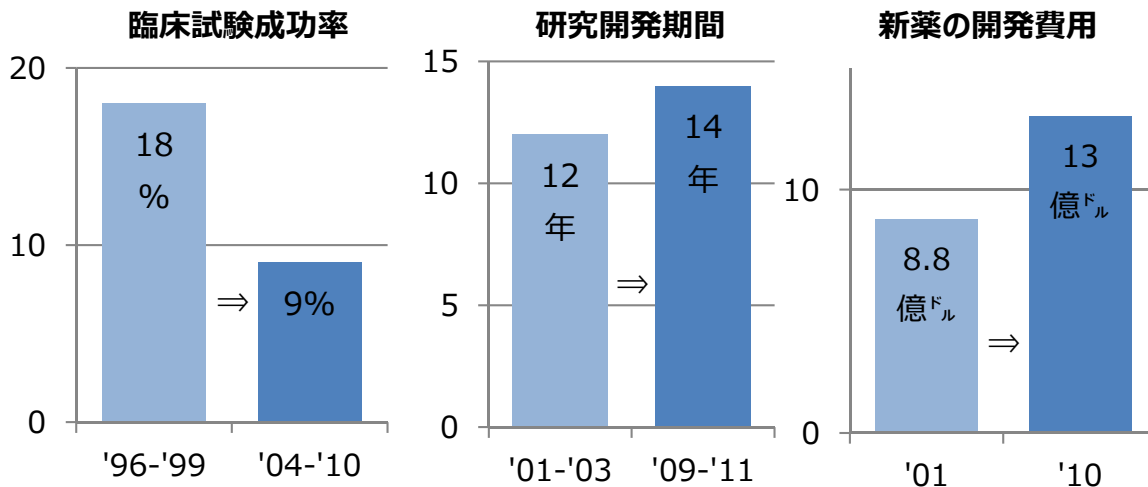


慶應義塾大学病院KOMPASから許可を得て転載 ©KOMPAS

# 創薬の難易度は上昇し、成功率は低下

- 創薬のプラットフォームや必要な研究領域が多様化・分散化した結果、創薬研究開発に多くのリソースを費やしているにもかかわらず、創薬の成功率は年々低下。

## 新薬 1 つあたり開発費用は増加



出典：米国研究製薬工業協会（PhRMA）資料から作成

## 個別化医療により、対象患者数は減少

薬剤名	適応症	バイオマーカー	当該変異を持つ患者の割合
ハーセプチン	乳がん	HER2タンパク質過剰発現	約20%
グリベック	慢性骨髄性白血病	Bcr-Abl融合タンパク質	約15~30%

## 新薬の開発成功率は低下

### 日本における新薬の開発成功率

	1996~2000年	2005~2009年
合成化合物数	422,653	652,336
前臨床試験開始決定数	238	203
臨床試験開始数	162	75
承認申請数	82	26
承認取得数	63	21
成功率	1/12,076	1/31,064

出典：日本政策投資銀行関西支店  
「創薬を中心とした医薬品産業の現状とバイオベンチャー発展に向けて」

# 新薬創出に向けたかつての潮流（メガファーマ追求時代）

- 研究開発費の規模こそが製薬業界の競争力を決定付けられると考え、製薬各社はM&Aによる大型化戦略を推進。

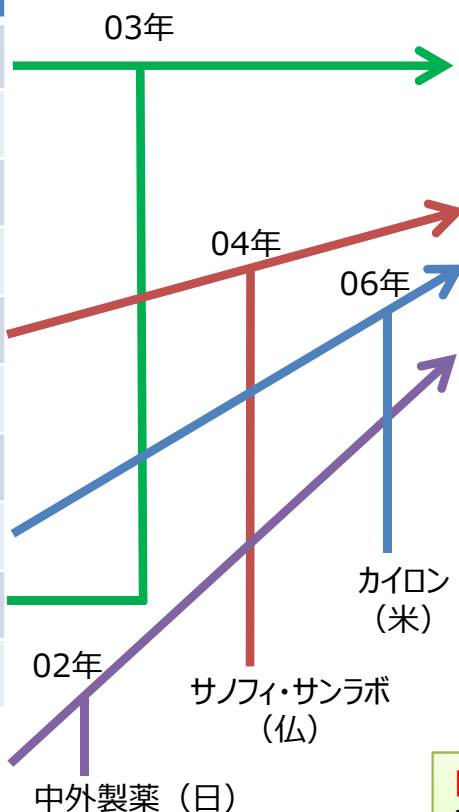
## 製薬企業の主なM&A

2001年

2006年

	社名	売上高 百万ドル
1	ファイザー(米)	25,518
2	グラクソ・スミスクライン(英)	24,973
3	メルク(米)	21,351
4	アストラゼネカ(英)	16,057
5	アベンティス(仏)	15,699
6	プリストル・マイヤーズ・スウィブ(英)	15,300
7	ジョンソン&ジョンソン(米)	14,851
8	ノバルティス(スイス)	13,519
9	ファルマシア(米)	11,970
10	アメリカン・ホーム・プロダクツ(米)	10,940

	社名	売上高 百万ドル
1	ファイザー(米)	45,083
2	グラクソ・スミスクライン(英)	39,335
3	サノフィ・アベンティス(仏)	37,461
4	ノバルティス(スイス)	29,491
5	ロシュ(スイス)	27,318
6	アストラゼネカ(英)	25,741
7	ジョンソン&ジョンソン(米)	23,267
8	メルク(米)	22,635
9	ワイス(英)	16,884
10	イーライ・リリー(米)	14,816



### 日本国内の合併

- 2005年 三共+第一製薬 → 第一三共
- 2005年 山之内薬品+藤沢薬品工業 → アステラス製薬
- 2005年 大日本製薬+住友製薬 → 大日本住友製薬



# 新薬創出に向けた新たな潮流（マネージメントカンパニー化の追求）

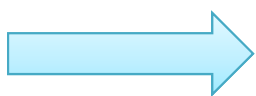
- 海外ファーマの中には、メガファーマの追求時から方針を転換し、研究の外部化、専門特化など、オープンイノベーションの追求への転換を加速する事例も。

## 創薬研究の外部化の例

ファイザー



- イギリスの主要研究所を閉鎖（2011年）

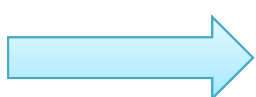


新薬シーズは自社研究ではなく、外部から調達。

サノフィ

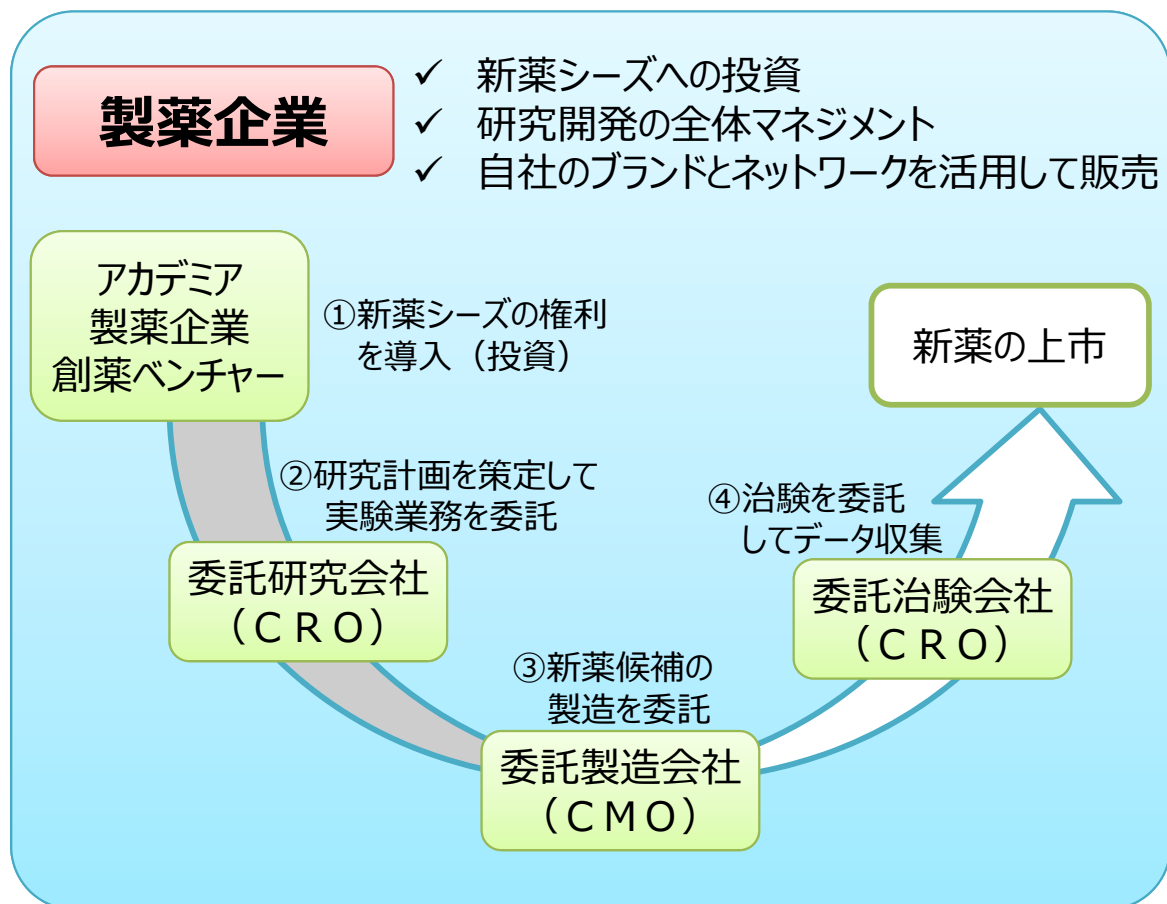


- 大手分析会社と最大1.2億ドルの提携契約（2015年）



外部のリソースを活用して、創薬研究を推進。

## 製薬企業の商社化

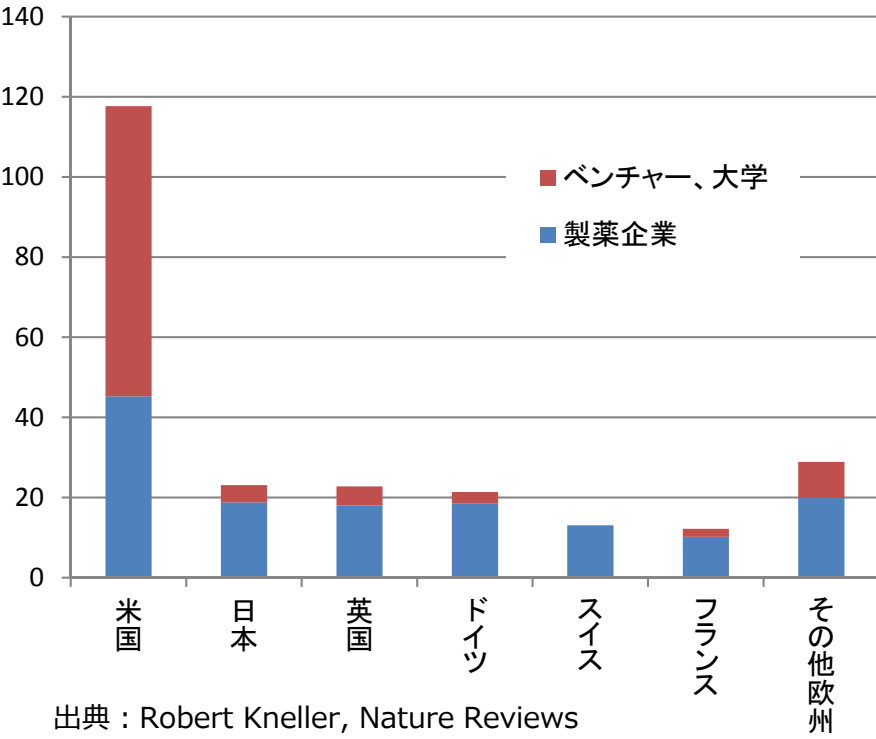


# 新薬創出に向けた新たな潮流（進む外部シーズの活用、外部機関との連携）

- 専門化・複雑化が進む創薬研究は、米国を中心に急速に外部シーズ、外部機関の活用が進んでいる。

## 大学、ベンチャーが多数の新薬を発見

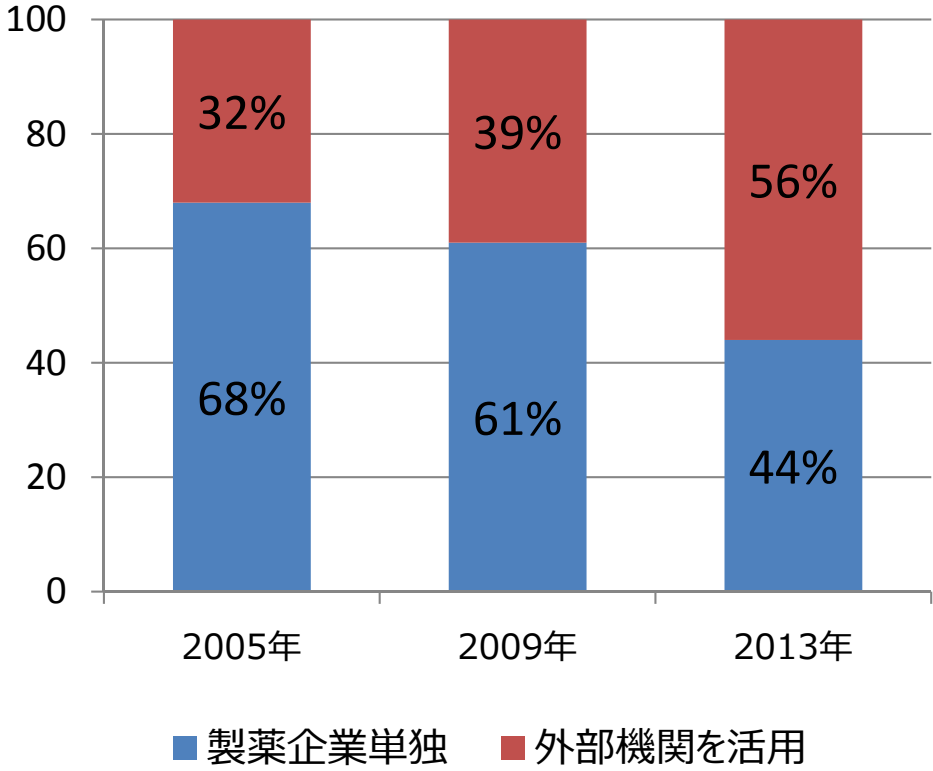
新薬開発のオリジン



出典：Robert Kneller, Nature Reviews Drug Discovery (November 2010)から作成

## オープンイノベーションにより生み出された新薬が増加

新薬の研究開発の方法（米国）



出典：米国研究製薬工業協会（PhRMA）資料から作成

# 日本の現状（活用が進んでいない日本のアカデミアシーズ）

- 我が国のアカデミアは、世界トップレベルの研究費を活用した研究が実施されており、国内アカデミア発の医薬品も存在。
- しかしながら、新薬開発におけるアカデミア等のシーズの活用割合は、米国に比べて圧倒的に低いのが現状。

## 主要国の大学等の研究費

	研究費 (兆円)
米国	5.0
日本	3.6
ドイツ	1.5
中国	1.0
フランス	1.0
英国	0.9
韓国	0.4

参考：文部科学省「科学技術要覧 平成26年版」から作成

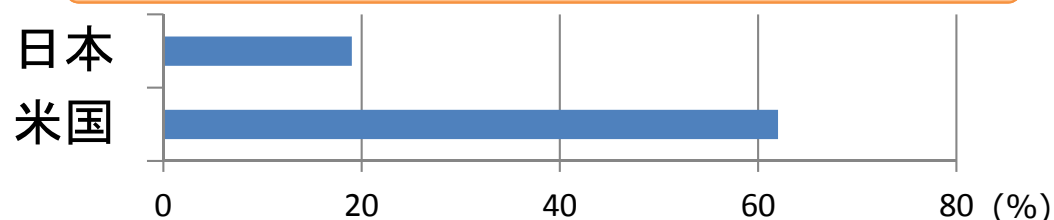
※主要国等の研究費の推移、主要国等の組織別研究費使用割合から算出。

## 国内アカデミア発の主な医薬品

研究者	医薬品	対象疾患（国内承認年）
岸本忠三教授 大阪大学	アクテムラ	キャスルマン病（2005） 関節リウマチ（2008）
上田龍三教授 名古屋市立大学	ポテリジオ	白血病（2012）
間野博行教授 東京大学	ザーコリ	肺がん（2012）
本庶佑教授 京都大学	オプジーボ	悪性黒色腫（2014）
酒井敏行教授 京都府立医科大学	メキニスト	悪性黒色腫（2016）

出典：日本製薬工業協会資料から作成

## オープンイノベーション型の新薬の割合

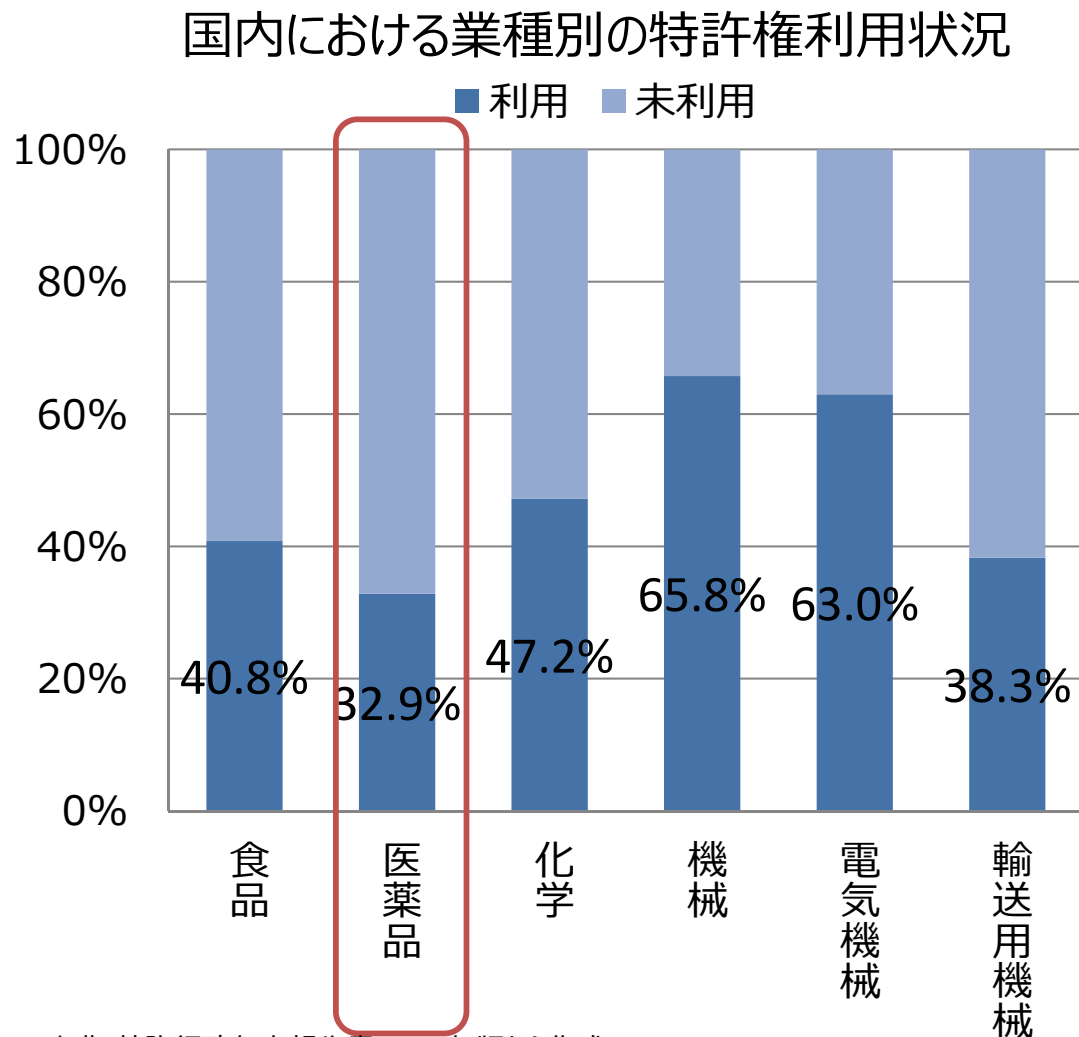


出典：Robert Kneller, Nature Reviews Drug Discovery (November 2010)から作成

# 日本の現状（眠る「企業内シーズ」）

- 我が国製薬企業の特許活用率は、他産業と比べて低水準。
- 戦略的、予算的制約から企業内シーズを十分に活用できていないのではないか。

## 製薬業界における特許利用率は低水準



出典:特許行政年次報告書2015年版から作成

## 製薬企業内の未活用シーズ

予算的制約や経営戦略の変更により、企業内には、開発されていない未活用のシーズがある。新薬のシーズとしては優れているものが多数あるので活用すべき。

製薬企業役員

## 研究開発費が限られる日本企業

(単位:百万ドル)

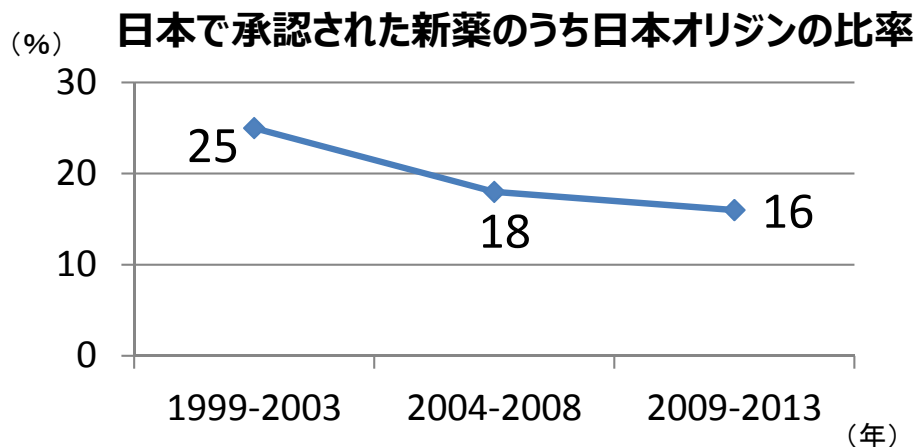
	メーカー名	国	売上	R&D費
1	ファイザー	米	47,878	6,678
2	ノバルティス	スイス	47,467	9,547
3	ロシュ	スイス	42,681	8,628
4	サノフィ	フランス	38,492	6,566
5	メルク	米	37,437	7,503
6	グラクソ・スミスクライン	英	35,787	6,468
7	ジョンソン&ジョンソン	米	28,125	5,810
8	アストラゼネカ	英	25,711	4,821
9	イーライ・リリー	米	20,962	5,531
10	アッヴィ	米	18,790	2,855
16	武田薬品工業	日	15,696	3,507
18	アステラス製薬	日	11,954	2,203
20	第一三共	日	10,985	1,963

出典:セジデム・ストラテジックデータ株式会社

# 日本の現状（新薬創出に苦しむ日本企業）

- 国内企業は新薬の創出に苦戦しており、日本発の新薬の比率は減少している。

## 日本発の新薬が減少



出典：日本製薬工業協会資料から作成

## バイオ医薬品のオリジン

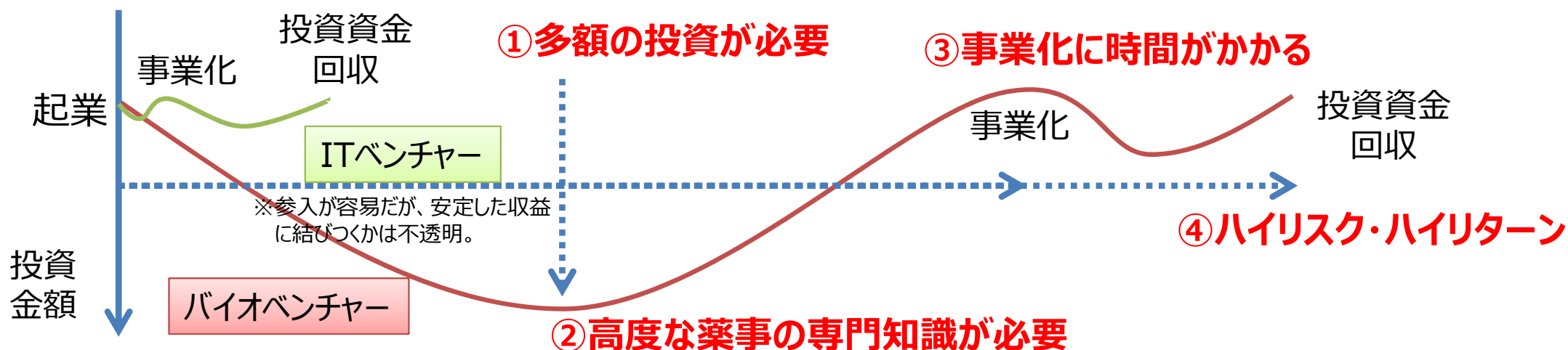
日本はバイオ医薬品において存在感を示せていない

※日本国内で承認されているもの

	医薬品数
国内製薬企業	2
海外製薬企業	8
バイオベンチャー(米国)	13

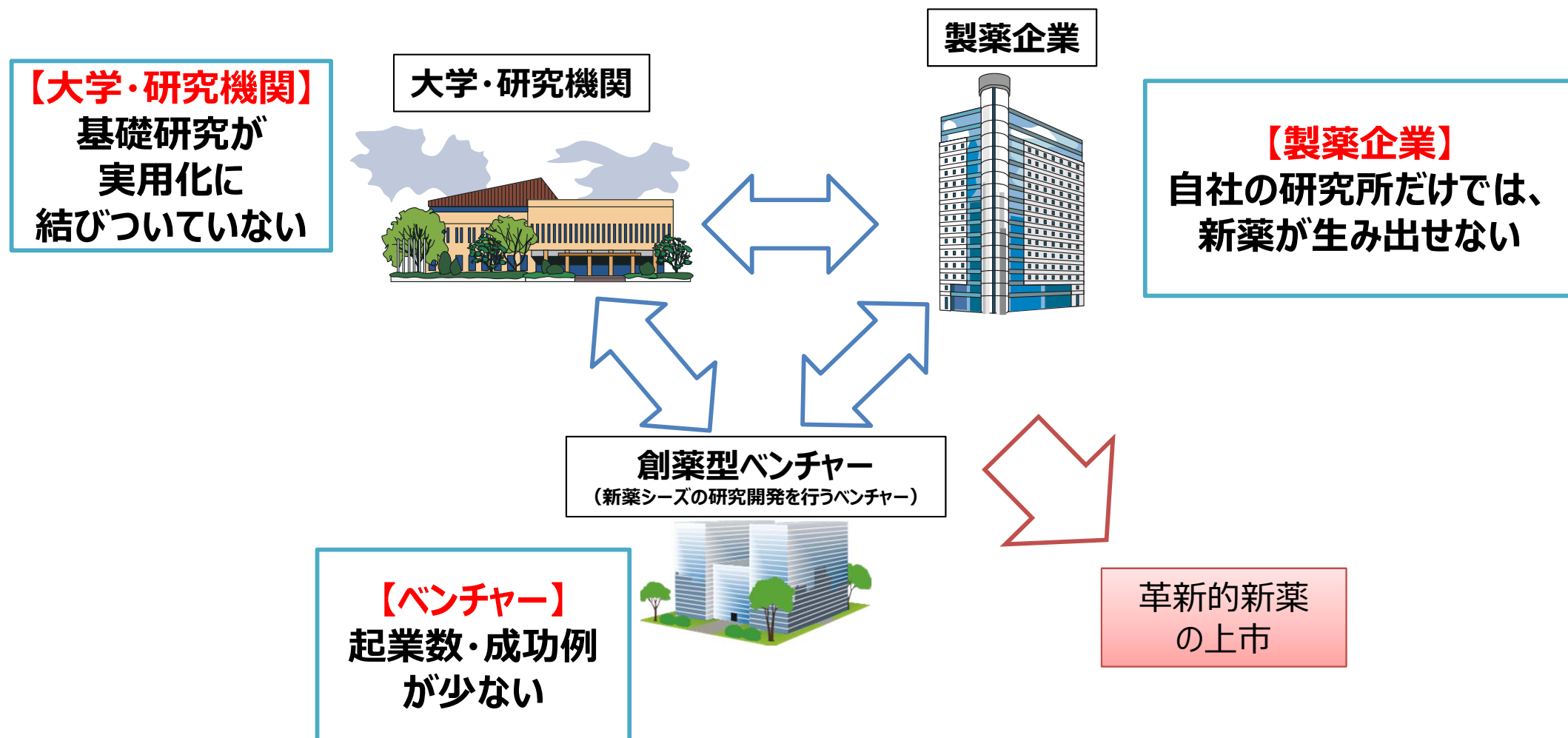
出典：日本政策投資銀行関西支店「創薬を中心とした医薬品産業の現状とバイオベンチャー発展に向けて」から作成

## 創薬ベンチャーが抱える課題（イメージ）



# 日本の現状（現在のエコシステムの抱える課題）

- イノベーションの加速のためには、埋もれているアカデミア等のシーズや、企業内シーズがスムーズに実用化されるエコシステムが必要。しかしながら、現状はうまく機能していない。

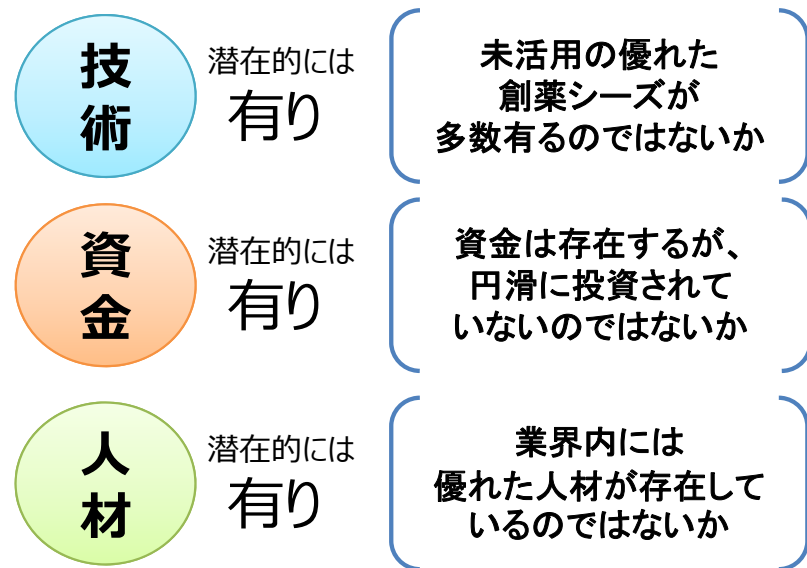


# 日本の将来（時代にあったエコシステムの実現に向けて）

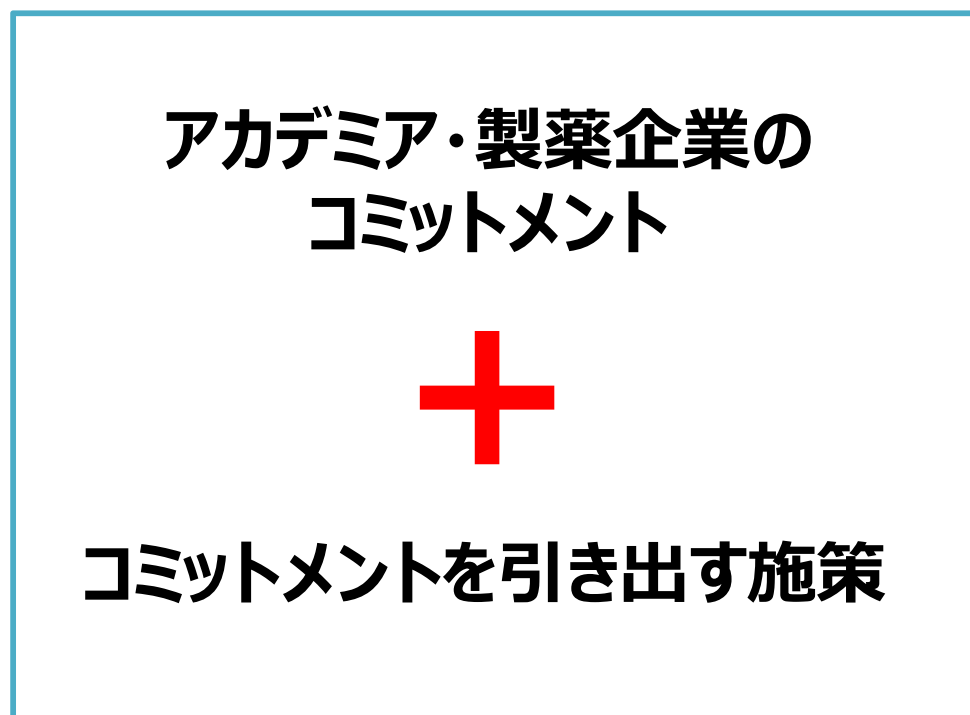
- 日本国内には、眠っている「人材」「技術」「資金」が存在するのではないか。

日本において、エコシステムを機能させるために、今後強化して取り組むべきことは何か。

## 現在の課題



## 解決の方向性



## ポイント

いかに、**人材・技術（シーズ、知財）・資金**を流動化させ、集中させるか  
(いかにオープン化、クローズ化を進めるか)

# (参考) 現在行われている主な施策

- 創薬分野のイノベーション創出に向けて、研究開発・資金調達等の多様な方法で支援策を行っている。

## 研究開発

- ✓ 健康医療分野の研究の推進 (AMED)
- ✓ 創薬研究の基盤となる技術開発 (経済産業省)
- ✓ ベンチャーインキュベーション施設 (中小機構)
- ✓ ベンチャー等の研究開発補助金 (中小企業庁)

## 資金調達

- ✓ ベンチャーへの出資 (産業革新機構)
- ✓ ファンドへの出資 (中小機構)
- ✓ VCと連携した研究開発型ベンチャーへの支援 (NEDO)
- ✓ ベンチャー投資の税制優遇 (エンジェル税制、ベンチャー投資促進税制) (経済産業省)

## 事業再編

- ✓ 産業競争力強化法による税制優遇 (経済産業省)
- ✓ スピンアウトベンチャーの創業支援 (産業革新機構)
- ✓ 海外経営資源の活用支援 (産業革新機構)

## 大学発シーズの実用化

- ✓ 大学における実用化研究への研究助成 (JST)
- ✓ 中堅・中小・ベンチャー企業と大学等との共同研究支援 (NEDO)
- ✓ 知財の取扱いに関するコンサルティング (AMED)
- ✓ 大学発ベンチャーの創業支援 (産業革新機構)

## 企業間マッチング

- ✓ ベンチャーと投資家・事業会社とのマッチングイベント (NEDO)
- ✓ オープンイノベーション協議会 (NEDO)
- ✓ ベンチャー創造協議会 (経済産業省)
- ✓ 企業間連携のコーディネーター (JBA※)
- ✓ 海外事業者とのマッチング (JETRO)

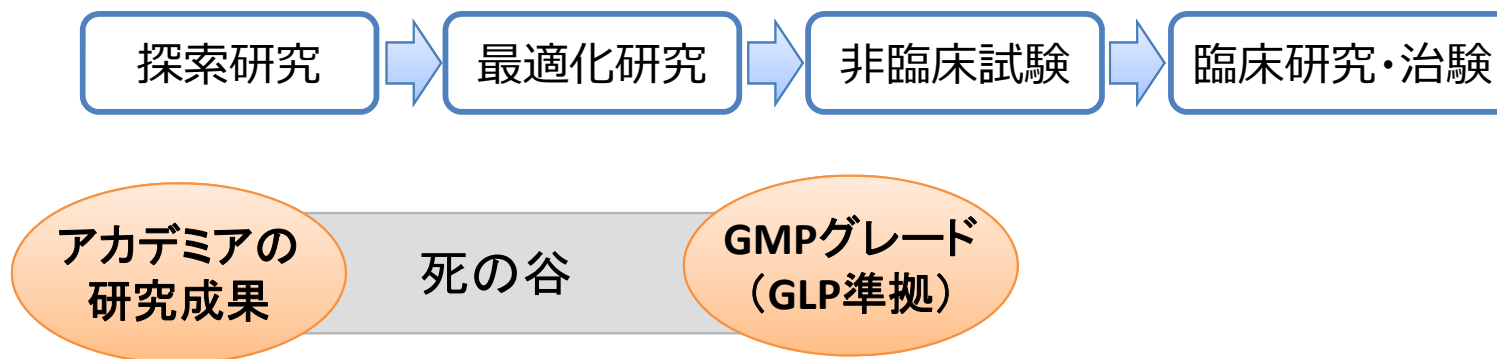
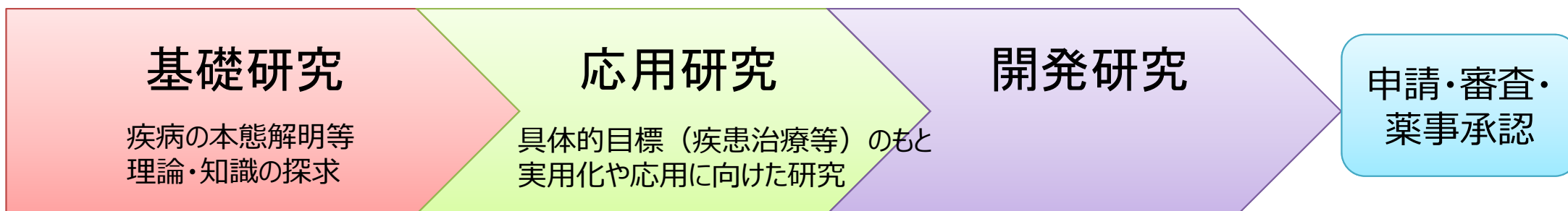
## 人材育成・経営支援

- ✓ 専門家によるベンチャー経営に関する助言 (NEDO)
- ✓ バイオベンチャーの経営セミナー (JBA※)
- ✓ 日本ベンチャー大賞 (経済産業省)



# (参考) 創薬の研究開発のプロセス

- 創薬の研究開発のプロセスでは、基礎研究、応用研究、開発研究が必要。アカデミアの研究成果を医薬品として実用化するためには、多くのステップが必要になる。



出典：AMED資料から作成