

# 日本発ヘルスケアイノベーション・エコシステムの将来像とアカデミア創薬への期待

岡田 安史<sup>1,2\*</sup>

<sup>1</sup> 日本製薬団体連合会 〒103-0023 東京都中央区日本橋本町3-7-2 MFPR日本橋本町ビル3階

<sup>2</sup> エーザイ株式会社 〒112-8088 東京都文京区小石川4-6-10

## 医薬品産業のビジネスモデルの転換: 「垂直統合型」から「水平分業型」へ

日本製薬団体連合会は医薬品製造業者を会員とする地域別団体及び業態別団体からなる連合会であり、医薬品産業の発展に必要な事項について調査研究し、業界としての意見をとりまとめその実現に取り組むとともに、加盟団体の事業に共通の利益を増進し、医薬品産業の発展並びに国民生活の向上に寄与することを目的としている。

製薬産業のめざす姿は、国民の健康寿命の延伸に貢献するとともに、基幹産業として日本経済の成長を牽引することである。これまで、製薬産業は、HIV・エイズ、C型肝炎、リウマチ、癌など有効な治療薬の乏しかった疾患において、革新的な新薬の創出によって疾患の治癒・寛解、症状の緩和等の劇的な治療効果を実現することで患者様の満足度の向上に大きく貢献してきた。

創薬に関する技術や手法は多様化・高度化しつつある。飛躍的なバイオテクノロジー技術の進歩により、低分子医薬品に加えて、細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬といった多様なモダリティが登場し、これまでアプローチできなかった希少疾患や難病に対する薬剤の開発も可能となり、患者様に新たな治療選択肢を提供できつつある。また、製薬産業のビジネスモデルは、研究開発から販売に至るまでのすべてのバリューチェーンを内製化する自前主義である「垂直統合型」から、バリューチェーンの各ステージにて、IT・デジタル技術の進歩などから高度化、複雑化、専門化したそれぞれの分野で強みを有する企業と連携する「水平分業型」へと転換しつつある(図1)。特に、創薬シーズの創出にはベンチャーやアカデミアとの連携が不可欠であり、世界で開発中の新薬の80%はベンチャー由来の製品が占めるに至っている。特に新規モダリティである抗体

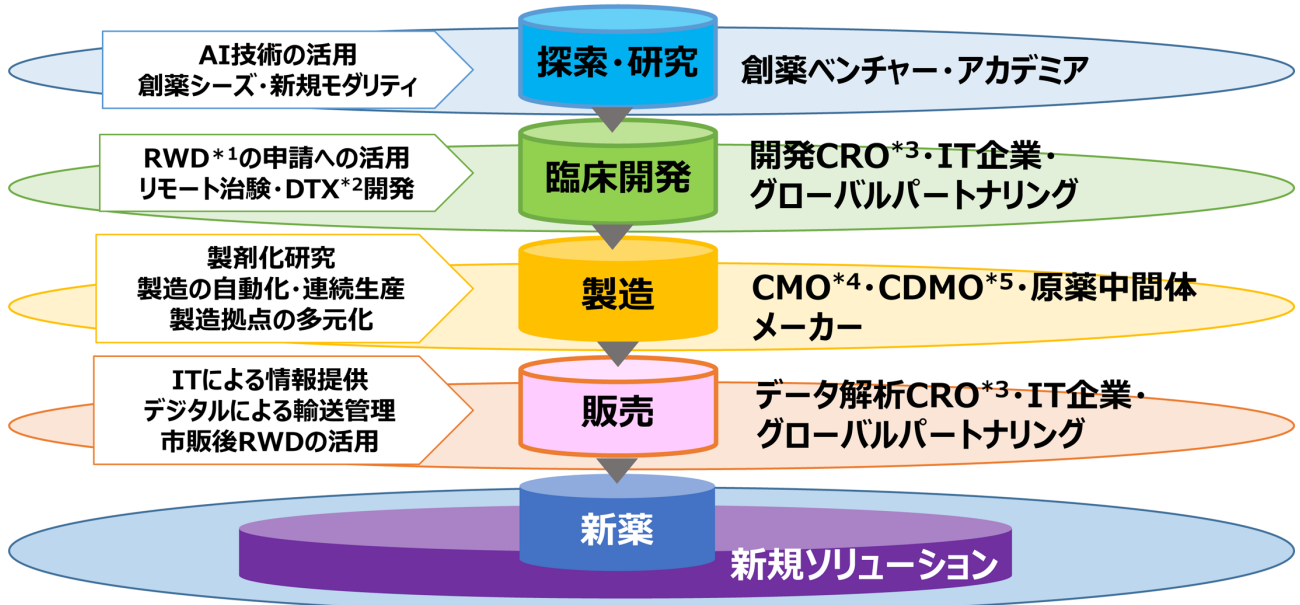
や遺伝子治療、細胞治療の多くはベンチャー由来であり、今や医薬品開発にベンチャーは欠かせない存在である[1]。

## 医薬品開発のバリューチェーンの変革

これまで医薬品開発のバリューチェーンは製薬企業が一社単独で完結してきたが、上述したように、創薬難易度が高まり、また新規モダリティの登場が相次ぎ多様な企業と連携するオープンイノベーションが主流となり、様々な革新が起こっている。創薬研究では、AIやロボットが活躍する時代となり、スピードアップのみならず成功確率の向上が見込まれる。将来は量子コンピューターも活用され、さらに精緻な解析などが可能となることが期待される。臨床試験についても、アダプティブデザイン、アンブレラ試験やバスケット試験など[2, 3]、治験の効率化や成功確率の向上を目指し様々なデザインが生み出されている。また、コロナ禍では感染リスクから来院が困難となり、分散化臨床試験(Decentralized Clinical Trials, DCT)の環境整備も大きく進むことになった。今後はReal World Data(RWD)による被験者の層別化、治験対照群としての活用、適応追加への活用などが期待され、さらなる革新が見込まれる。また、コロナ禍ではパンデミック時に有効性と安全性とのバランスを取りながら、いかに早く患者さんに治療薬やワクチンを届けるかといった問題意識から、緊急時の薬事承認の在り方について議論がなされ、2022年5月の薬機法改正にて緊急承認制度が創設された[4]。その後、日本発の新型コロナウイルス感染症治療薬が、この制度のもとで承認第1号となった(ゾコーバ錠 125 mg)[5]。医薬品の製造に関しては、従来の低分子化合物と比較して、バイオ医薬品の製造には巨額の投資が必要となり、最近の事例でも製造施設の整備に数1000億円規模の投資がなされている。新規モダリティの創薬では、規模の小さいベンチャーがシーズを生み出している一方で、その製造には巨額の設備投資が必要であることから、CMO(Contract Manufacturing

\*責任著者:岡田安史 y3-okada@hhc.eisai.co.jp  
受付日 2023年6月15日 受理日 2023年7月18日

# 「垂直統合型」から「水平分業型」への変化



\*1 Real World Data \*2 Digital Therapeutics \*3 Contract Research Organization  
\*4 Contract Manufacturing Organization \*5 Contract Development and Manufacturing Organization

Fig. 1. それぞれの分野で強みを有する企業等と連携する「水平分業型」のバリューチェーン

Organization：医薬品製造受託機関）やCDMO（Contract Development and Manufacturing Organization：医薬品開発製造受託機関）ビジネスが広がり、医薬品製造の分野では非常に水平分業が進んでいる。医療サービス・医薬品流通の革新として、中国ではオンライン診療、オンライン薬局、そして薬剤の配送までをカバーするワンストップのヘルスケアプラットフォームが構築されている。オンライン診療においては、その信頼性を高めるべく、主治医を自ら選べる仕組みとなっており、さらにドローンや無人配送トラックを活用し、当日もしくは翌日の配送が実現している。規制環境の違いがあり、今すぐ全てを日本で実現することは困難であるが、徐々にこういった革新的技術を活用した医薬品流通の改革が起こることが予想される。最後に、創薬研究、臨床開発、市販後調査などのバリューチェーンの革新には健康医療ビッグデータの利活用が不可欠であり、現在効率的な臨床データの収集や医療における活用、さらには二次利用について議論が進んでいる。欧州ではEuropean Health Data Space (EHDS) という先進的な構想が提案されている。日本もこのEHDSを参考にし、国民にどのような便益を提供するかという視点からバックキャストで、「データ基盤構築」と「法制度整備」を両輪とする総合政策を推進していくべきと考えている。

## アカデミア創薬の課題

アカデミアの研究成果は創薬ベンチャーや製薬企業へと導出され、臨床試験、そして承認申請が行われ、実用化される。新薬の開発には10年以上の期間と巨額の研究開発費が必要であり、また多くの創薬シーズは承認にたどり着かず失敗に終わる。アカデミアにより発見された創薬シーズが製薬企業による実用化に至るまでにはベンチャーの育成も含め様々な課題があるが、まずはアカデミアによる創薬研究について述べる。製薬企業の立場から見た大きな課題として、創薬に必要なデータが取得されていないことが挙げられる。ある実験モデルで一定の有効性を示す物質を見出しただけでは、製薬企業はその物質を導入して開発に踏み切ることにはできない。導入にあたっては、その物質は生体内のどの分子に作用するのか（創薬標的分子の同定）、創薬標的分子以外の分子には作用しないか（創薬標的分子への選択性）、その創薬標的分子はヒトの生体内でも発現しているのか、その創薬標的分子に作用することに安全性上の懸念はないか、使用した実験モデルは患者さんの病態を反映したモデルなのか、その物質は臨床にて許容される投与方法及び用量にてしっかりと標的組織に到達するのかなど非常に多くの観点からの精査が必要となる。したがって、製薬企業への導出を目指すにあたっては、これ

らの疑問に答えられるデータをできるだけ取得しておくことが重要となる。また、社会実装にあたっては、特許が極めて重要であるが、その考え方にもアカデミアと企業で乖離がある。基礎研究にて素晴らしい成果が得られたら早期に学会発表や論文投稿を目指すことが重要であるが、実用化にあたっては適切な特許戦略が必要である。特許戦略として、出願時期、出願国、特許請求の範囲や実施例の検討など非常に難易度が高いので、早期に専門家に相談することが重要である。既に論文発表などをしており特許が取得できない、あるいは限られた範囲でしか権利行使できないなどの問題があると、企業としては導入をあきらめざるを得ないであろう。

最後に、日本全体の課題として大きな懸念を持っているのが創薬シーズとなるアイデアや新規物質などの重要な資源、いわゆるアセットが日本のアカデミアには少ないことである。実際に、基礎研究の指標の一つとなる論文数ランキングでは、主要ジャーナルに掲載された論文数において、この約20年間で日本は順位を落としている一方で、中国は米国を抜き、世界第1位となっている[6]。今後、日本から革新的な創薬シーズを絶え間なく生み出していくには基礎研究への投資を惜しんではならないと考えている。

---

## スタートアップの起業・育成の課題

---

抗体や遺伝子治療、細胞治療などのいわゆる新規モダリティについては、創薬シーズの開発においてベンチャーが重要な役割を果たしている。しかしながら、これらの新規モダリティの臨床段階の開発状況を企業別・国籍別に調査すると、多くは海外のバイオベンチャーの製品であり、日本のベンチャーの製品は極めて少ないことが明らかとなっている。また、時価総額10億ドル超の未公開企業であるユニコーン企業の調査では、米国を筆頭に、中国、インド、欧州諸国など、世界中で多くのベンチャーが成功を収めている一方で、日本は非常に少ない。さらに、日本におけるベンチャーの出口戦略としてのM&Aの産業分野毎の調査では、モバイルやクラウドなどIT関連が多いの対し、ライフサイエンス分野では非常に少ないことが報告されている[7]。

日本のベンチャーの起業や育成に関する課題として、投資資金が少ないこと、アントレプレナーシップが低いこと、専門人材が少ないこと、グローバル化が遅れていることなどが挙げられる。投資資金について日本と米国と比較すると、総投資額で100倍以上の差があり、1社あたり平均でも日本のベンチャーへの投資は米国の数分の1にとどまっている。専門人材という点から、創薬ベンチャーにはサイエンス及びビジネスの専門性をもち、製薬

企業での研究・開発経験のある高度な人材が必要である一方で、日本と欧米や韓国、台湾を比較してみると、PhDやMDの保有率、製薬企業出身者やMBA保有者の割合、いずれも日本の創薬ベンチャーは十分に確保ができていないことが明らかとなっている。起業に関する日本人の意識調査の結果では、新しいビジネスを計画している人の割合が他の先進国と比較して日本では極めて少なく、新しいビジネスを始めることが望ましい選択肢であると考えている人の割合も日本は非常に低くなっている。

---

## 創薬エコシステムの構築に向けて

---

アカデミア、スタートアップ、製薬企業などの多様なプレーヤーが有機的に連携し、基礎研究により生み出された創薬シーズを革新的新薬の創出へと結びつけていくには、産官学が一体となって創薬エコシステムを構築する必要がある。

現在、MEDISO（医療系ベンチャー・トータルサポート事業）やInnoHub（Healthcare Innovation Hub）といったアカデミアやベンチャーによる創薬を支援する様々な政府の事業が進められている。早い段階からこのような事業を活用することで、有用なアドバイスや支援が得られることが期待される。さらに、医療分野の実用化に向けた研究開発を推進するAMEDを通じて、資金面での支援も受けられる可能性が広がっている。特に、創薬ベンチャー支援については、2022年12月に「創薬ベンチャーエコシステム強化事業」に3,000億円もの巨額な予算が措置されることが決定された。また、グローバルバイオコミュニティの形成に向けて、政府の「バイオ戦略2020」に基づき、エコシステム形成の基盤として、内閣府によりGreater Tokyo Biocommunity (GTB) とバイオコミュニティ関西 (BiocK) が認定された。製薬業界はバイオコミュニティにおける産官学の連携を強化すべく、その活動に積極的にコミットしていきたいと考えている。その最初の取り組みとして、日本製薬団体連合会に加盟する日本製工業協会（製薬協）は東京圏を中心としたGTBの本郷・御茶ノ水・東京駅拠点の幹事機関として拠点の運営に参画している。2022年9月に、東京大学、東京医科歯科大学、製薬協の3者で連携強化に向けたキックオフ会議を行い、2023年3月には第1回総会を開催し、現在多くのアカデミアや製薬企業が参画している。

有望な創薬シーズを社会実装するには、資金や設備に加え、エコシステムを動かす人材が必要である。政府は「ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業」等の事業にて製造設備の支援を行っているが、製薬協としては設備を動かす人材が重要であると考

え、一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンター（BCRET）の活動の支援に加えて、即戦力バイオ製造人材の育成や学生のバイオ製造人材教育の支援を行う。また、製薬協は、臨床研究を進める上で不可欠な生物統計家の育成を目指して、AMEDが実施している「生物統計家育成推進事業」を支援している。製薬産業は、出口戦略のみならず、バイオコミュニティ形成や人材育成など様々な取り組みを通じて、アカデミアの生み出した創薬シーズが円滑に実用化に至る創薬エコシステムの形成にコミットしていくべきと考えている。そして、産官学が一体となって革新的なヘルスケア・ソリューションを絶え間なく生み出し、国民の健康増進に貢献するとともに、世界をリードする科学技術立国としての日本の再興に貢献していく。

## 文献

1. 厚生労働省 2021「医薬品産業ビジョン2021」（資料編）新興バイオファーマの医薬品売上高・開発品目数のシェア
2. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 データサイエンス部 2021「アダプティブデザインに関するFDAガイダンスの邦訳」
3. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 データサイエンス部 2023 「Rare diseaseの治療効果の推測法—マスタープロトコルを用いた試験デザイン及びその実例」日本製薬工業協会シンポジウム：Rare diseaseの臨床開発における治療効果推測の現状と課題
4. 「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」<https://elaws.e-gov.go.jp/document?lawid=335AC0000000145> (2023年7月10日)
5. 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 2022 「ゾコーバ錠125mg 審査報告書」[https://www.pmda.go.jp/drugs/2022/P20220719001/340018000\\_30400AMX00205000\\_A100\\_4.pdf](https://www.pmda.go.jp/drugs/2022/P20220719001/340018000_30400AMX00205000_A100_4.pdf) (2023年7月10日)
6. 文部科学省 科学技術・学術政策研究所 2022 「科学技術指標2022」国・地域別論文数, Top10%補正論文数, Top1%補正論文数
7. 青木義則 2021 「2021年か飛躍に向けた転換点となるのか、活況を呈した国内スタートアップM&A—EYスタートアップM&A動向調査2021—[https://www.ey.com/ja\\_jp/mergers-acquisitions/whether-2021-will-be-a-turning-point-for-a-leap-forward-a-booming-domestic-startup-m-and-a-trend-survey-2021](https://www.ey.com/ja_jp/mergers-acquisitions/whether-2021-will-be-a-turning-point-for-a-leap-forward-a-booming-domestic-startup-m-and-a-trend-survey-2021) (2023年7月10日)