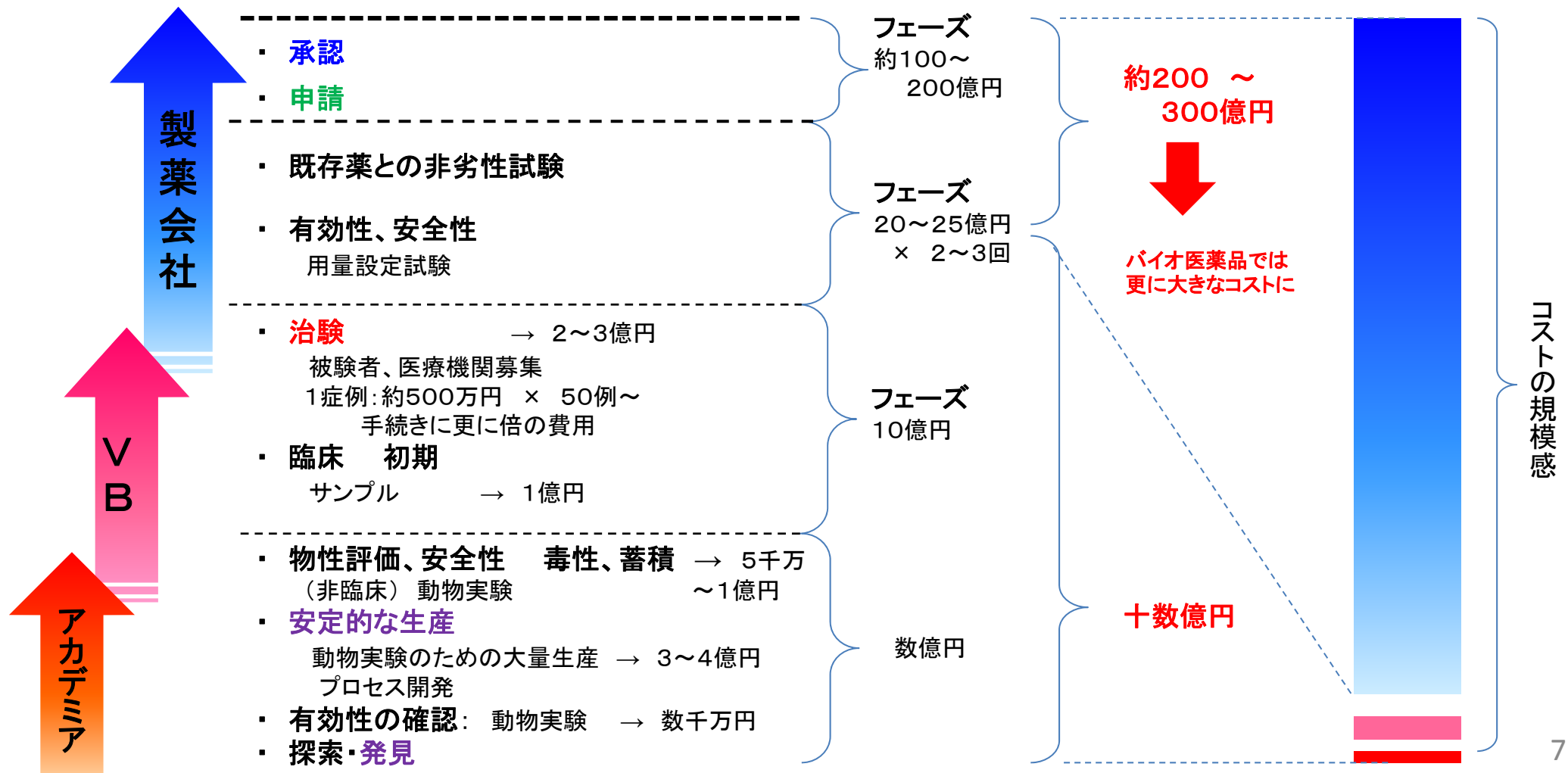


<参考1> 創薬事業の課題（段階毎のコストのイメージ）

- 新たな医薬品の製造には、有効性や安全性等複数の段階を経る必要があり、段階が進むにつれて、莫大な費用が必要になる。こうした、費用を円滑に確保するためのビジネスモデルの確立が必要。
- バイオ医薬品の開発コスト増大に対処するため、海外ではメガファーマ同士の水平合併により、資本力の拡大を図ると共に、治験段階までを受け持つベンチャー企業との機能分担が明確になりつつある。



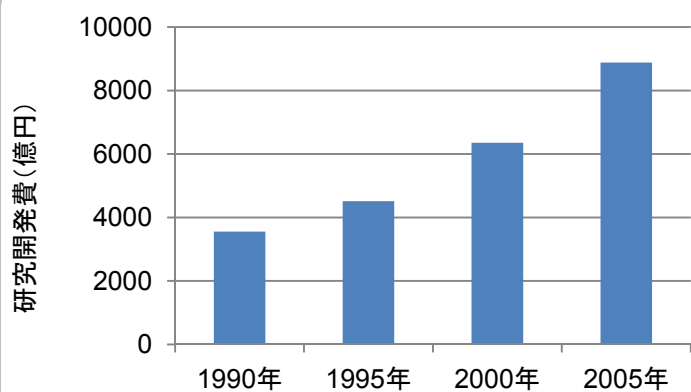
5. 創薬事業の課題（企業のビジネスモデル）

- 我が国の製薬メーカーは、バイオ医薬品開発に要する膨大なコスト負担への対応に苦慮。国内開発を中心とした従来のビジネスモデルが行き詰まりつつある。
- ベンチャー企業においても、バイオベンチャーブームが一段落しつつある中、改めて出口戦略を念頭に置いたビジネスモデルの構築が必要。

大手製薬メーカーの課題

- バイオ医薬品については、従来の低分子化合物医薬品とは製造工程が異なるため、大規模な設備投資とともに、人材の育成・確保が必要となるため、本分野への投資には慎重なスタンス。
- この結果、海外ベンチャー企業の買収を通じた創薬シーズの確保と、海外の医薬品受託製造企業への委託生産といったビジネスモデルが主流となり、国内における創薬基盤が脆弱化する懸念が生じつつある。

【日本製薬企業(10社)の研究開発費】



出典) 日本製薬工業協会 DATA BOOK 2007

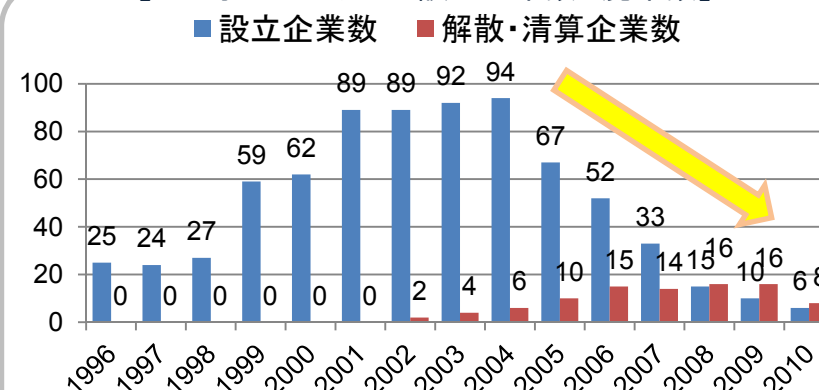
創薬系バイオベンチャー企業の課題

- 大学等での研究が基本となるため、有効性のデータが強調される一方で、安全性に関する調査・研究が不十分。
- 創薬としての出口戦略を念頭に置いた研究開発及びビジネスモデルの検討が必要。

(参考) バイオベンチャーの課題については、圧倒的に「資金」不足と規制に伴う「ドラッグラグ」との声が大きいが、バイオベンチャーの黎明期における10年間の「失敗」の原因は、必ずしも資金や規制といった外的要因によるものばかりではない。

平成22年度産学連携人材育成事業から(要約)

【バイオベンチャーの設立企業数と廃業数】

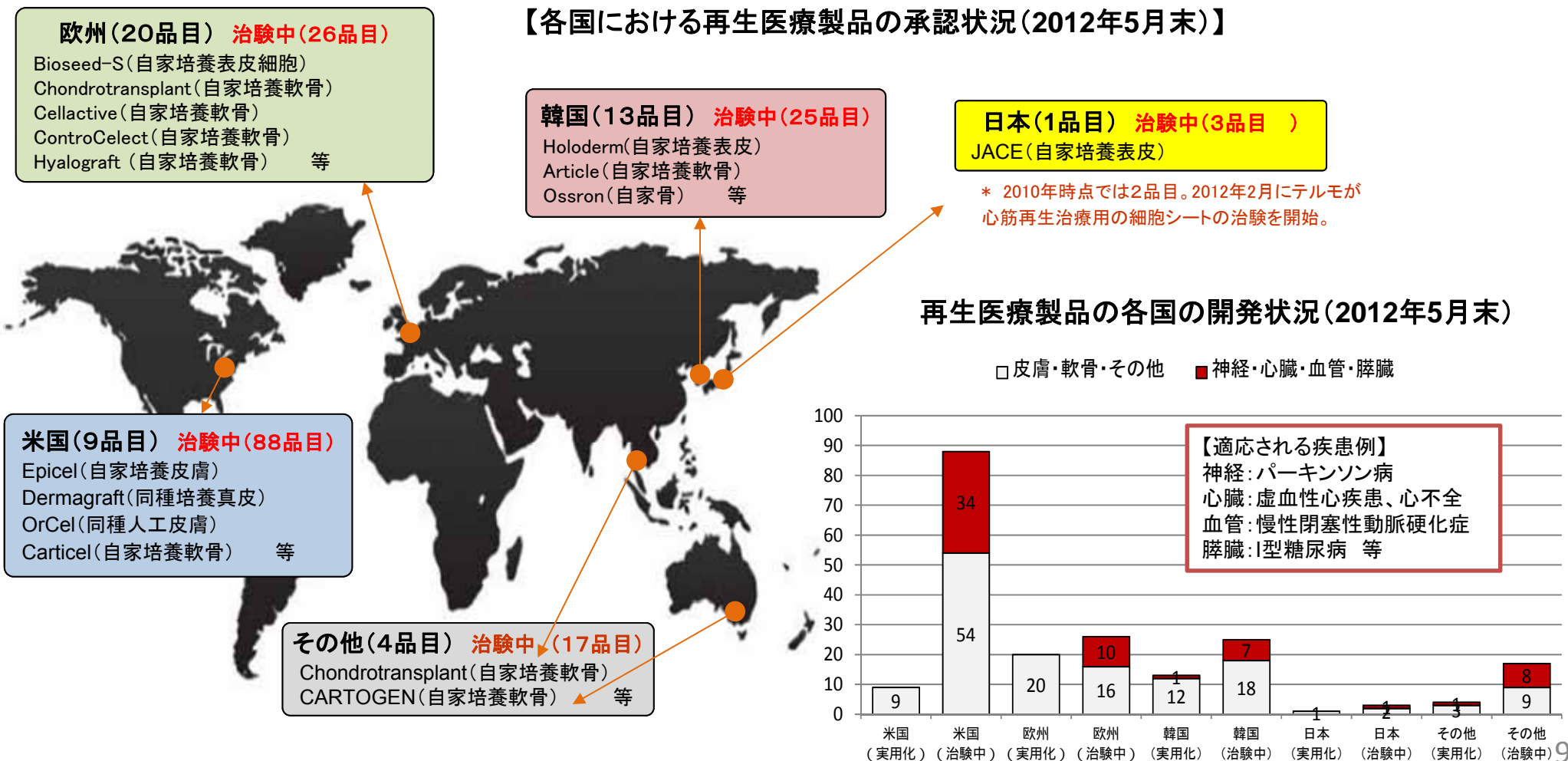


注) 廃業とは通常の解散・清算企業のほか、吸収合併統合等に伴う解散等を含む
出典) (財)バイオインダストリー協会 2011年バイオベンチャー統計調査報告書

6. 再生医療製品の国内外における実用化の動向

- 我が国の再生医療は、iPS細胞等の研究レベルでは世界のトップレベルにあるものの、再生医療製品の实用化件数が欧米や韓国と比べ著しく少ない。
- 将来治療対象となる患者数が多いと見込まれる神経や心臓疾患等についての再生医療製品の開発においても大きく後れをとっている。

【各国における再生医療製品の承認状況(2012年5月末)】



7. 再生医療の課題（法制度のミスマッチ）

- 再生医療は、優れて個々の患者の性質・病状に依存してその効果が発揮されるものであり、不特定多数の患者を前提とする現行薬事法の法体系を見直し、現在の技術水準に見合った安全性、有効性確認の制度設計が必要。
- 現状の再生医療製品の取扱いは、薬事法の中で、医薬品、医療機器のいずれかに分類される形になっている一方、実際の医療行為は医師法に委ねられており、求められる安全性について整合性に欠ける状態にある。
- また、これに要する各種関連装置等については、従来の薬事法が想定する対象範囲を大きく超えるものであることから、技術の改善、進歩を十分加味することの出来る効果的な法制度の整備が重要。

◆ 現行の薬事法で位置づけておくことの問題点

<あるべき姿>

個々の患者に合わせた治療の迅速な提供

- 個々の患者の症状・体質に合わせたオーダーメイド性の高い再生医療製品の特性を踏まえた基準や審査制度の整備により、患者への迅速な提供を実現することが必要。

整合性のある安全・衛生基準の整備

- 再生医療は医師の手技と一体であり、医療現場に求められる安全性、衛生水準を基本として、これと整合性のある基準の整備が必要。

技術進歩に適応した基準の整備

- 日々進化し続ける製造装置等について、常に最先端の機器を使った研究、治験が可能となるよう基準の整備が必要。

<現行の薬事法で位置づけられていることの問題点>

- 現行の薬事法では、オーダーメイド性の高い再生医療製品に対し、不特定多数の人が服用する薬と同等の厳格な審査が行われ、承認までに時間がかかる。
- 有効性の確認のために薬と同じレベルの比較試験が求められ、倫理的問題が生じることがある。

- 現行の薬事法では、再生医療製品の製造に当たって、大量生産を前提とした半導体製造装置に匹敵するクリーンルームの整備を求めた上で、一品生産を求めている。
- 実際の治療や治験の現場におけるこれらの水準は遙かに低く、明らかに過剰な要求となっている。

- 日本における再生医療製品の製造では、製造設備の配置や操作手順など、原料の受け入れから出荷まで、製造工程全般にわたって詳細に審査されるため、最新の機器を導入することが困難。

<憂慮すべき事例>

・筋再生医療用の細胞シートの移植(阪大・テルモ)
→ 重症心不全のような重症例に対して比較試験を行うことは倫理的に問題があるにも関わらず、薬事法上、実施するようPMDAから求められた。

・再生医療についての研究、治験等を行おうとする機関は、極めて高額な製造装置を整備することが求められたうえで、一品生産しか認められず、大きな負担となっている。

・日本では最新の機器についての審査に多大なコストがかかるため、製造装置等の国際市場においては、日本は在庫品、中古品の処分市場とされている。

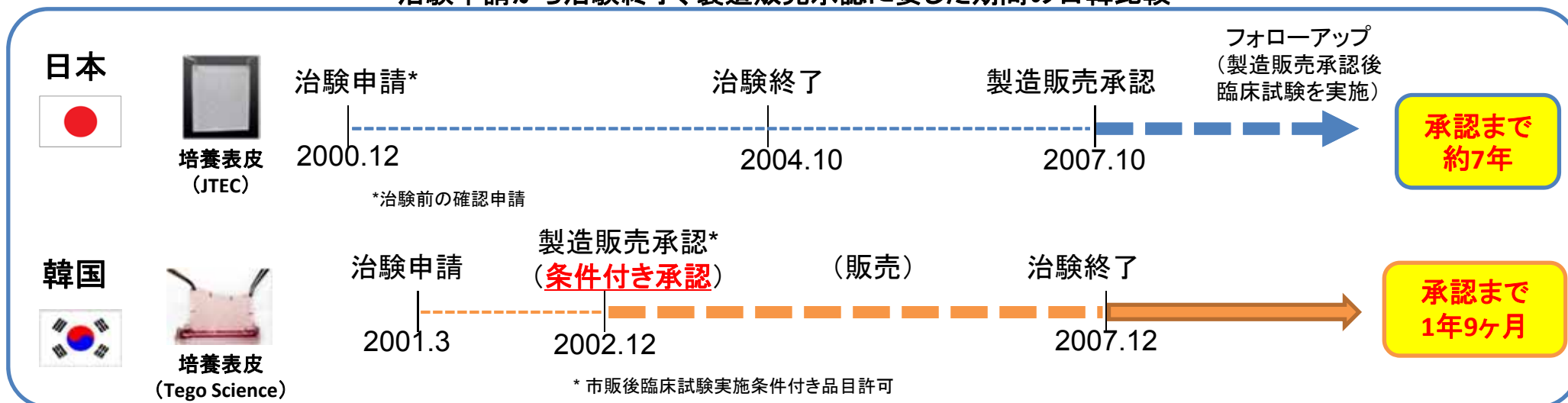
<参考2> 再生医療の実用化に向けた各国の取組

- 米欧韓では、**ファストトラック制度**や**条件付き承認制度**など、先端医療医薬品として位置づけた上での審査の迅速化等、再生医療の実用化を促進する取組が行われている。

再生医療製品に関する日本と海外の制度比較

| 国 | 再生医療製品の規制区分 | 再生医療製品に対する優先審査(ファストトラック)／条件付き承認制度 等 |
|---------|--------------------------------|---|
| 米国 | 生物製剤又は医療機器 | ○ 再生医療製品を含む生物製剤に関して、致命的な疾患の治療薬等に対する ファストトラック制度 等。 |
| 欧州 (EU) | 医薬品 (ATMP(先端医療医薬品)の一つとして規制) | ○ 2008年、ATMPの安全性等の評価に特化した先端医療委員会(CAT)を、欧州医薬品審査庁(EMA)の下部組織として設置するとともに、ATMP用製造管理・品質管理基準の策定に取り組んでいる。 ○ ATMPについて、EU各国の審査を経ずに、初めからEMAで中央審査を行い、 迅速にEU内に流通させる中央審査制度 を導入。 |
| 韓国 | 医薬品 (生物学的製剤等として規制) | ○ 生物学的製剤等に関する迅速審査制度。 ○ 再生医療製品を対象とした 市販後臨床試験実施条件付き品目許可制度 。 |
| 日本 | 医薬品又は医療機器 | - |

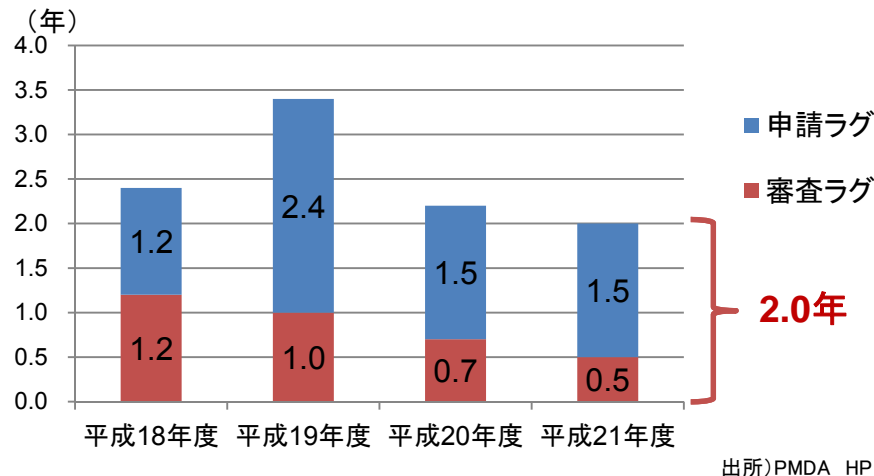
治験申請から治験終了、製造販売承認に要した期間の日韓比較



<参考3> ドラッグ・ラグの解消に向けた取り組み

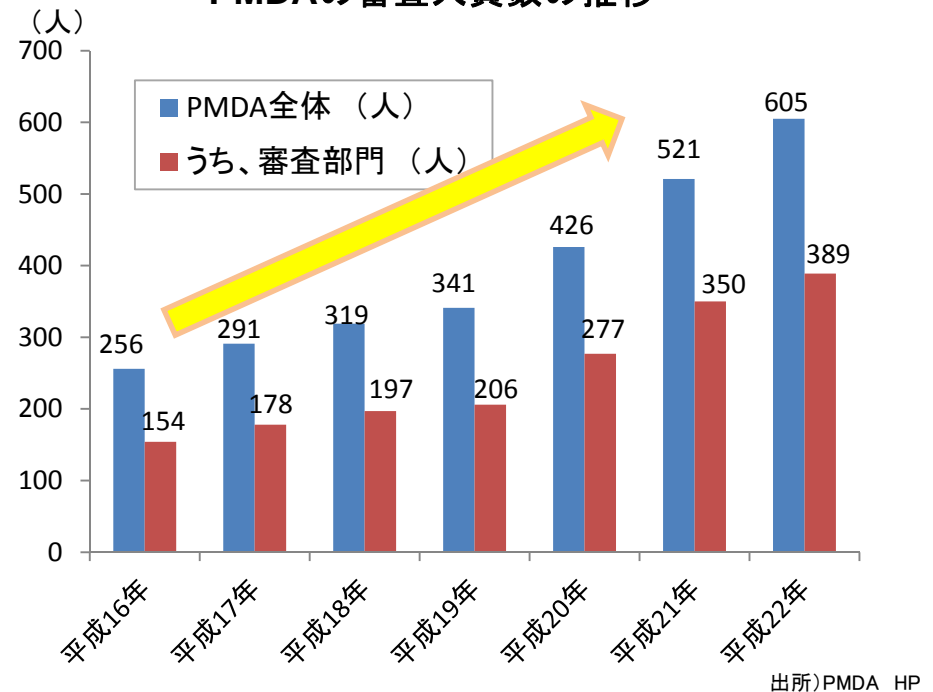
- ドラッグ・ラグの解消に向けては、(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)の人員増が図られつつある。
- その他の点についても、厚労省、PMDAは改革の方向性を示しており、それらが実現すれば、医薬品分野の規制改革は一定程度進むことが期待される。
- なお、再生医療については、その特性を十分考慮した安全性等についての審査方法の確立が必要。

ドラッグ・ラグ(日米間)の推移



申請ラグ：当該年度に国内で承認された新薬について、米国における申請時期との差の中央値
 審査ラグ：当該年度における日米間の新薬の総審査期間(中央値)の差
 ドラッグ・ラグ：申請ラグと審査ラグの和

PMDAの審査人員数の推移



今後進められる予定の規制・制度改革例

- ・革新的新薬について特別審査ルートを設置
- ・先進医療で得られた臨床試験結果の承認審査での活用の容認
- ・医療上特に必要性が高い未承認薬等の例外的使用許可
- ・希少疾病について、少数の被験者数でも合理的に安全性・有効性を評価できるようなガイドラインの整備

・ 出口を見据えた

新たなビジネスモデルの構築

8. ビジネスモデル構築のための新たな視点

- 我が国において創薬・医療分野を成長戦略の柱とするためには、ブロックバスター医薬品開発を基本とするハイリスク・ハイリターン型のビジネスモデルだけに頼るのではなく、我が国の強みを活かした多様な出口戦略を念頭に置いたビジネスモデルの構築が必要。
- こうした戦略を実現するためには、従来のような研究開発を始めとする資金的な支援とともに、医療の個別化を前提とした法制度の見直しが不可欠である。

出口を見据えた5つの方策

- ① 創薬・再生医療関連産業の活性化
- ② 次世代創薬システム(IT創薬)の開発
- ③ コンパニオン医薬へのシフト
- ④ 改良型バイオシミラーの活用
- ⑤ 未利用創薬シーズの活用(ドラッグ・リポジショニング)

医療の個別化を前提とした法制度の見直し

- 医療の個別化と技術進歩に対応した安全性・有効性確認の制度設計

9. ① 創薬・再生医療関連産業の活性化

- 我が国のものづくり力を活かして創薬・再生医療分野における産業化を促進するためには、最終的な新薬、再生医療そのものに加え、これらを支える各種関連技術分野の充実を図ることが必要。
- iPS細胞等の幹細胞研究は我が国が国際的にリードしている分野であり、再生医療の実用化とともに、創薬プロセスにおけるスクリーニングシステムなど医療分野のサポーターインダストリーとして育成を図ることが可能。
- 培養幹細胞を始め、培養機器等それ自体が最終商品として販売されるものについては、創薬そのものに比べて投資リスクも小さく、遙かに早い段階でビジネスモデルを構築することが可能。

<事業例>

(例1) 細胞培養そのものを産業化する取り組み

高品質の幹細胞を安定的に大量供給する基盤の構築

- ➡ 研究や治療に不可欠な幹細胞そのものの供給
- ➡ 培養装置等周辺機器等の供給

幹細胞の培養 幹細胞を大量に生産



品質評価 高品質な幹細胞を選別



凍結保存 幹細胞を自動凍結、解凍



幹細胞の培養、品質評価、凍結保存まで連続的に行う装置を開発

(例2) 再生医療の前段階で実用化する取り組み

○ iPS細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発

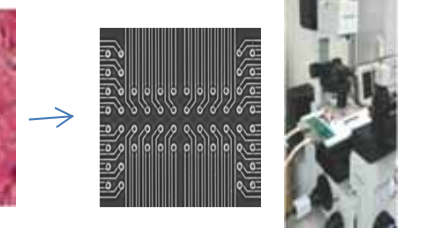
- ➡ iPS細胞から作製した心筋細胞を用いて開発候補薬の安全性を正確に評価するシステムを開発



iPS細胞



心筋細胞



心筋細胞を配置した
創薬スクリーニングシステム

(医薬品を心筋細胞に作用させ、反応を測定)