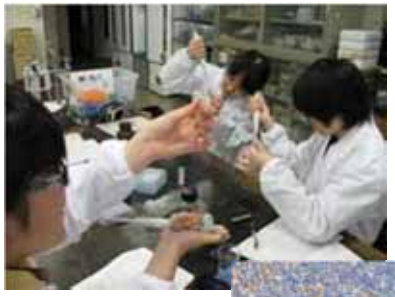
＜参考5＞　IT創薬システムの開発　（創薬手法の変化）

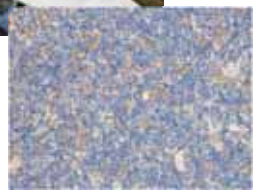
経済産業省
Ministry of Economy, Trade and Industry

○　従来は、動物試験や、生細胞を使った薬物試験が主流。薬物探索にかかるコストが年々増大。
○　2000年以降、ゲノムの解析が進み、遺伝子にコードされたタンパク質の構造が次々と判明。
→　ターゲットとなる**タンパク質の構造が判明**することにより、**分子を設計**して効果を高めることが可能に。

従来の手法

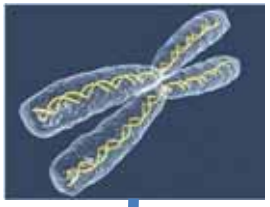
・動物試験
・染色試験　等

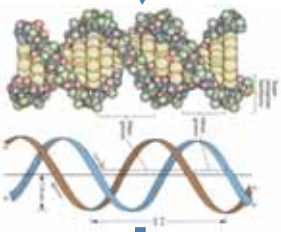


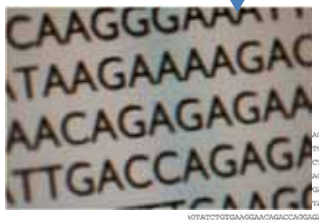


探索コストの増大

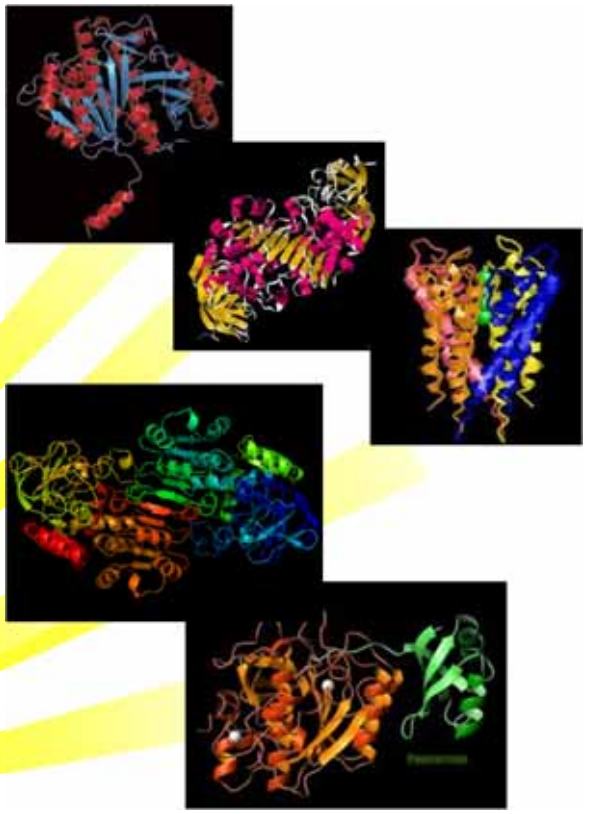
ゲノムの解析







医薬品のターゲットとなる
タンパク質を次々に可視化



9. ③ コンパニオン医薬へのシフト

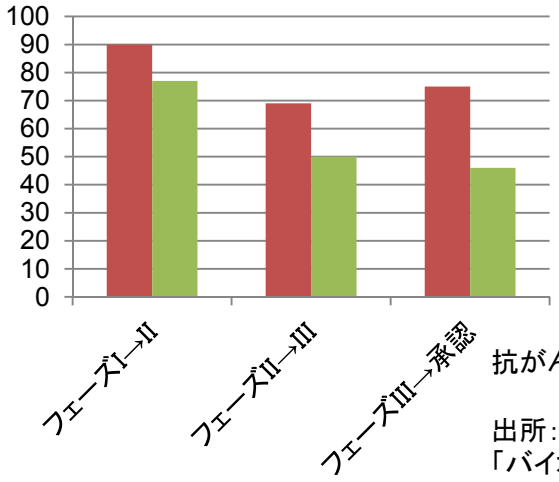
経済産業省 Ministry of Economy, Trade and Industry

○高度なバイオ医薬品は、優れて**個々の患者の性質・病状に依存してその効果が最大限に発揮される。**

○バイオ医薬品を有効活用するためには、患者の遺伝子やタンパク質などのバイオマーカーを調べ、有用性の確保や副作用の回避を判断できる**診断薬（コンパニオン診断薬）の開発が必要。**

○コンパニオン診断薬の普及により、**治験成功率の向上、患者のQOLの向上などに資する。**

患者の層別化による治験の実施：成功率の向上



抗がん剤の相移行確率における患者層別マーカーの影響

出所：政策研ニュースNo. 35
「バイオマーカーが医薬品開発の生産性に与える影響」

治験成功率の向上、開発費の削減

○ 患者の生理的状態をより精密・正確に把握した医療（**精密医療**）

○ 病状が顕然化する前からの積極的介入治療（**先制医療**）

コンパニオン診断薬実用化に向けて

○ 多くのバイオマーカー候補は濃度が低いため、**検出技術の感度向上が必要**
○ 医薬品とコンパニオン診断薬の開発を並行して行うに当たっての**ビジネスモデルの構築**
○ 医薬品とコンパニオン診断薬を適切かつ迅速に**認可するルールの明確化**
○ **診療報酬および保険償還の在り方**

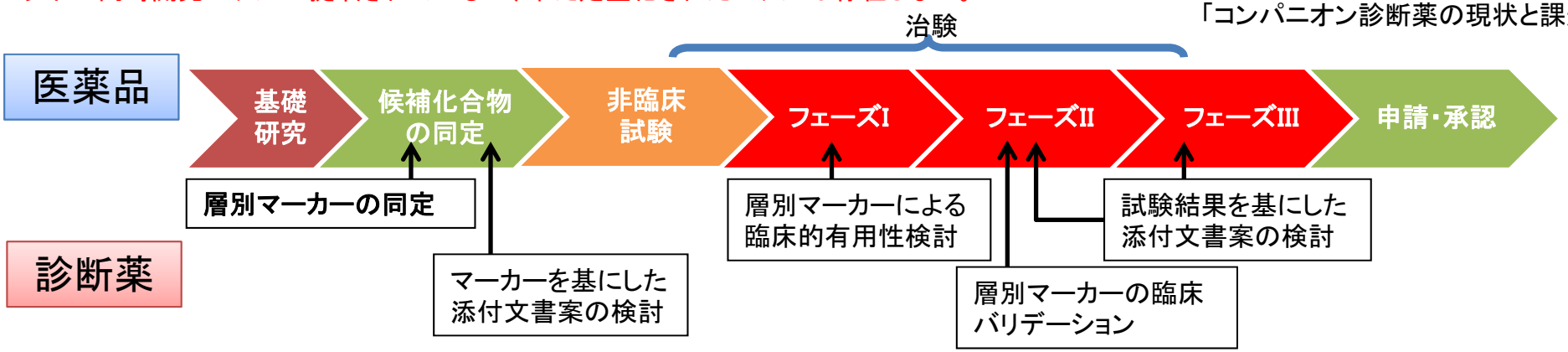
＜参考6＞　コンパニオン診断薬の課題

経済産業省
Ministry of Economy, Trade and Industry

○　医薬品とコンパニオン診断薬の開発を並行して行うに当たってビジネスモデルの構築

以下の同時開発モデルが提唱されているが、未だ定型化されたモデルは存在しない。

出所：政策研ニュースNo. 34
「コンパニオン診断薬の現状と課題」



○　医薬品とコンパニオン診断薬を適切かつ迅速に認可するルールの明確化

欧米では、コンパニオン診断薬の開発に関連するガイドラインが存在。
我が国においては、2012年4月より、PMDAにてコンパニオン診断薬に関わる問題点を整理し、必要なガイドライン等の作成の検討が行われているところ。
http://www.pmda.go.jp/kijunsakusei/companion.html

○　診療報酬および保険償還の在り方

診断薬の価格や測定のための人件費等も含めた診療報酬点数が公的に設定され、それに基づき償還される。旧来型の生化学検査や血液検査と異なり、コンパニオン診断薬は処理速度や用いる試薬などの要因によりコスト高である。それにもかかわらず、償還価格はばらつきが非常に大きい。

出所：政策研ニュースNo. 36
「コンパニオン診断薬のガイドライン・償還に関する国際比較」

9. ④改良型バイオシミラーの活用

経済産業省 Ministry of Economy, Trade and Industry

○ 2015年前後には、**バイオ医薬の特許切れが相次ぐいわゆる「2015年問題」**が控えており、**後発バイオ医薬（バイオシミラー）**開発が注目されている。

○ バイオシミラーは、低分子化合物の後発品（ジェネリック）よりも参入が難しい一方、**バイオ新薬に比べ開発コストが少なく、成功確率が高い。**

○ また、ポテリジェント技術など我が国発の抗体改変技術を用いることで、**バイオシミラーより薬効の優れたバイオ後続品（バイオベター）の開発が今後期待される。**

ジェネリックと比較した
バイオシミラーの特徴

開発コストが高額

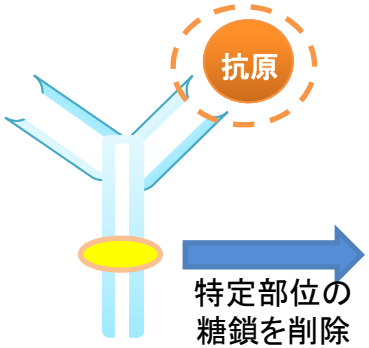
製造原価が高価

設備建設に時間・コストがかかる

ジェネリックにくらべて**高い薬価が見込まれる**（欧州でのバイオシミラー価格は新薬の60～90%）

○ ジェネリックよりも参入が難しい一方、高い薬価が見込まれる。
○ バイオベターの開発も期待される。

バイオベターの例
ポテリジェント技術（協和発酵キリン）



特定部位の改変により、従来の抗体に比べ**100倍以上高い抗腫瘍効果を発揮**

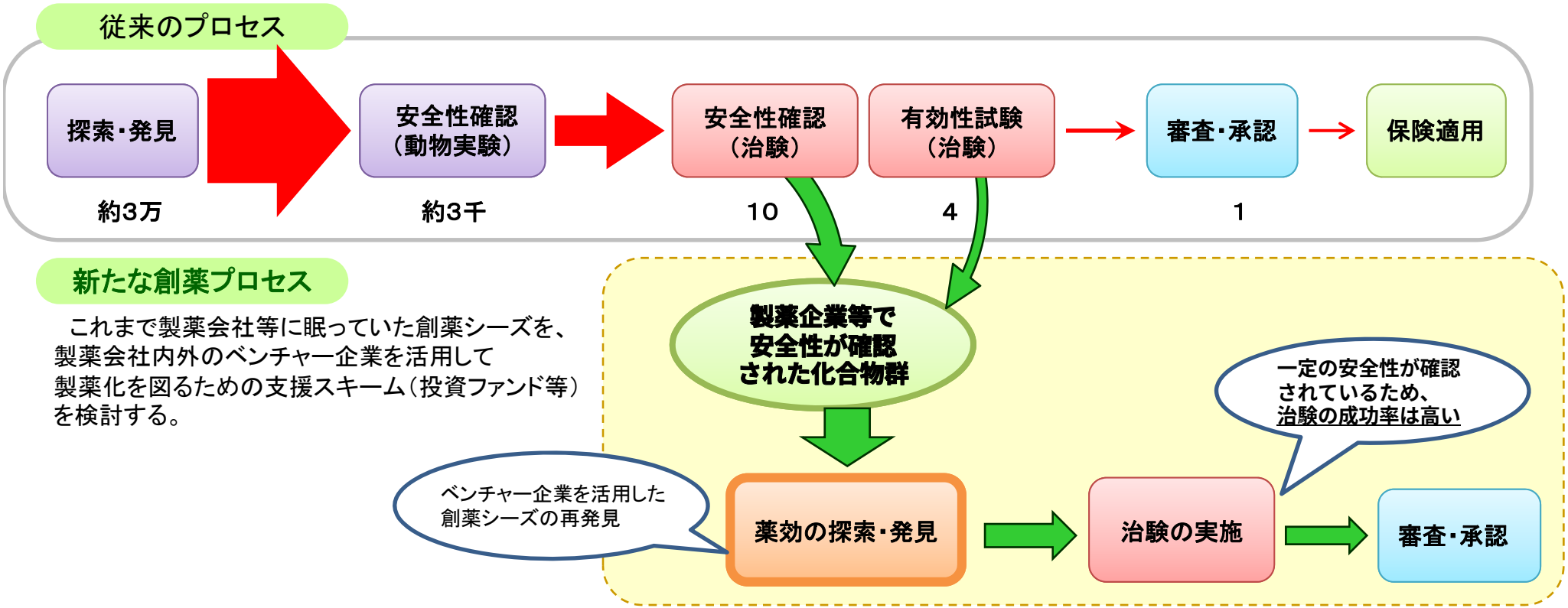
抗体のうち、Fcの中心部分の糖鎖（フコース）を取り除くことで、抗体のADCC（Antibody-Dependent Cellular Cytotoxicity：抗体依存性細胞傷害）機能を向上させる技術。従来の抗体に比べ100倍以上高い抗腫瘍効果を示すことが確認されている。

9. ⑤ 未利用創薬シーズの活用

経済産業省 Ministry of Economy, Trade and Industry

○ 創薬プロセスにおける研究・開発コストが拡大するなか、**開発リスクを軽減し、新薬の開発を効率的に行う**ためには、これまでの研究開発において**最終的に上市に至らなかった数多くのシーズ**や、**当初予定していなかった効能が発見されたシーズ**について、改めて製薬化を図ることが重要。

○ 特に、治験で安全性は確認されたが有効性が十分に確認できず開発を断念したものなどは、比較的迅速に**上市に至るまでのビジネスモデル**を描くことが可能となる。



● **既存薬剤の新たな用途探索（ドラッグ・リポジショニング）**

（例）グリベック（慢性骨髄性白血病）→ 新たな効能の発見（特定の高血圧症治療効果）により、新薬としての展開が可能に。

サリドマイド（睡眠導入剤） → 抗ガン剤、 高血圧剤 → リアップ（育毛剤）