

ボストンバイオテクノロジーエコシステム:

MIT アカデミックアントプレナー、新技術、 そして病気を治療する会社の設立

内閣府イノベーション・エコシステム専門調査会
2022年3月28日

ハーヴェイ・ロディツシュ教授
マサチューセッツ工科大学 生物学部・生物工学部
ホワイトヘッド生物医学研究所

私はいくつかのバイオテクノロジー企業の立ち上げに携ってきたが、
心の中はアカデミックな細胞・発生生物学者として、
基礎的な生命現象の解明に努めている。

- 1979年 Damon Biotech (廃業)
- 1979年 Bioinformation Associates
- 1981年 Genzyme
202億ドルでSanofiに売却
- 1983年 Arris (現在はAxys) Pharmaceuticals
- 1993年 Millennium Pharmaceuticals
90億ドルで武田薬品に売却
- 2005年 Allozyne (廃業)
- 2014年 Rubius
2018年7月IPO
- 2017年 Tevard
- 2019年 Carmine
- 2020年 Cargene
- 2021年 Cerberus

私はいくつかのバイオテクノロジー企業の立ち上げに携ってきたが、
心の中はアカデミックな細胞・発生生物学者として、
基礎的な生命現象の解明に努めている。

2007年から2016年まで、私はマサチューセッツ生命科学センターの
科学諮問委員会の創設委員長を務めた。

この機関は、経済開発事務局の下にあり、当時10年間で10億ドルの
生命科学への投資を監督する役割を担っていた。

2007年からはボストン小児病院の評議員を務め、
評議員会研究委員会の委員長となっている。

あらゆる病気の治療法の開発には濃密な協力が必須:

営利を目的としない:

- ・ 細胞生物学、分子生物学の基礎研究をしている学術的な研究室
- ・ 病気や症状を研究している医療機関や研究病院
 - 研究開発に対する政府の支援
 - 患者または疾病に基づく国内または国際的な組織
 - 研究開発に対する慈善的な支援

ゴール: 細胞培養や実験動物で機能する1つ以上の治療薬候補。

医薬品ではなく、コンセプトの証明。

しかし、これらの発見を特許化し営利団体にライセンスしなければ、学術的な発見が文献に埋もれてしまい、医療ニーズのある治療法の発見につながらない可能性がある。

営利企業のゴールは、世界中のすべての患者が利用可能なFDA(アメリカ食品医薬品局)承認の治療薬の開発。

MITをはじめとする多くの米国の研究型大学は、
教員が起業家になることを奨励している
(ただし、要求はしていない)。

- ・我々は“学外の専門活動”が週1日(年間52日)まで認められている。
 - 営利企業との連携活動やコンサルトをすることができる。
 - 非営利団体のアドバイザーを務めることができる。
- ・教員は営利企業の立ち上げ、コンサルティング、株式の保有はできるが、執行役員にはなれない。
- ・明確な利益相反のルールがある。:
 - 我々の研究室では、経済的な利害関係のある企業から研究資金を得ることはできない。
 - 毎年学外での活動について費やした時間を報告しなければならない。

現在MITの研究の約40%は生物医学分野となっている。

生物医学・ヘルス関連の研究は、MITの多くの学部や学科で行われており、以下のような研究所がある。

- ・生物学
- ・生物工学
- ・脳科学・認知科学
- ・化学
- ・化学工学
- ・電気工学・コンピュータサイエンス
- ・数学
- ・医用工学・科学
- ・スローン経営大学院

- ・ホワイトヘッド生物医学研究所
- ・MIT・ハーバード大学ブロード研究所

MITの起業家精神の備わった教授陣が生み出す 起業家精神育成に向けた協力的な環境

- MITには、教授陣の起業家としての長い歴史と文化がある
 - 経験豊富なシリアルアントレプレナー
 - 若い教員のメンター
- MITでは、教員や学生向けに多くの起業家養成コースを提供している。
 - ファイナンス
 - マーケティング
 - 知的財産
 - 人的資源
- 例えば、「バイオテクノロジーの科学とビジネス」という科目ではMITスローン経営大学院のAndrew Lo教授と一緒に授業を行っているが、MIT EdXのコースとして公開されており、27,000人以上の学生が受講している。

<https://www.edx.org/course/the-science-and-business-of-biotechnology>

新たな治療法を研究する起業家精神旺盛な教授陣が、
多くのバイオテクノロジー企業の設立と発展に貢献し成功に導いた。

歴史的に医薬品のほとんどは有機化学の技術によって合成された低分子医薬品であった。多くは天然物や伝統的な医薬品であった。分子生物学や細胞生物学、人類遺伝学の進歩により、多くのバイオテクノロジー企業が設立され、拡大した。

組換えDNA技術の開発(～1970年代)

- 治療薬としてのタンパク質(～1980年)

組換え治療用タンパク質

モノクローナル抗体

ヒトゲノム配列の最初の草稿とその後の草稿(2001年)

- RNAオリゴヌクレオチド治療薬(～2010年)

アンチセンスオリゴヌクレオチド

スプライシングエフェクター

ワクチン

- 遺伝子治療(～2010年)

In vivo (アデノ随伴ウイルス; 脂質ナノ粒子)

Ex vivo (レンチウイルス)

- 細胞治療(～2015年)

置換細胞(臍島など)

人工細胞(抗がん剤CarT細胞; 人工赤血球)

- 遺伝子編集(～2021年)

2018年に米国で販売された処方薬上位15品目のうち10品目が、バイオテクノロジーに基づくタンパク質治療薬であった。

Drug	Company	2018 Sales US\$ billions
1. Humira (adalimumab)	AbbVie	19.936
2. Eliquis (apixaban)	Bristol-Myers Squibb and Pfizer	9.872
3. Revlimid (lenalidomide)	Celgene	9.685
4. Opdivo (nivolumed)	Bristol-Myers Squibb and Ono	7.570
5. Keytruda (pembrolizumab)	Merck & Co	7.171
6. Enbrel (etanercept)	Amgen and Pfizer	7.126
7. Herceptin (trastuzumab)	Roche (Genentech)	6.981
8. Avastin (bevacizumab)	Roche (Genentech)	6.847
9. Rituxan (rituximab)	Roche (Genentech) and Biogen	6.750
10. Xarelto (rivaroxaban)	Bayer and Johnson & Johnson	6.589
11. Eylea (aflibercept)	Bayer and Regeneron	6.551
12. Remicade (infliximab)	Johnson & Johnson and Merck	5.908
13. Prevnar	Pfizer	5.802
14. Stelara (ustekinumab)	Janssen Biotech (Johnson & Johnson)	5.156
15. Lyrica (pregabalin)	Pfizer	4.970

ジェンザイム創業者および 科学諮問委員会メンバー(1980年)

- Charley Cooney バイオプロセス工学
- Harvey Lodish * 細胞生物学
- ChoKyun Rha バイオポリマー
- Bill Roush 有機合成
- Tony Sinskey
- Graham Walker *
- George Whitesides *
- Chris Walsh *

* 米国科学アカデミーの会員

モデルナ セラピューティクス 科学諮問委員会の設立

- Jack Szostak, Ph.D., モデルナ科学諮問委員会 会長 2009年ノーベル生理学・医学賞
ハーバード大学 メディカル・スクール 遺伝学教授 *
- Kenneth R. Chien, M.D., Ph.D., Academic モデルナ共同創業者; カロリンスカ研究所(スウェーデン、ストックホルム)細胞分子生物学部門、医学部門教授
- Douglas Cole, M.D., ゼネラルパートナー, Flagship Ventures
- Robert Langer, Sc.D., Academic 共同創業者, Moderna; MITデビット・コーク研究所教授 *
- David Liu, Ph.D., ハーバード大学科学、生物化学部門教授 *
- Douglas Melton, Ph.D., ハーバード大学自然科学部門教授 Thomas Dudley Cabot Professor in the Natural Sciences at Harvard University *
- Elizabeth Nabel, M.D., ブリガム婦人病院 院長, ハーバードメディカルスクール 医学分野教授 *
- Derrick Rossi, Ph.D., ハーバード小児病院、ボストン小児病院 助教授
- Timothy Springer, Ph.D., ハーバード大学医学部生物化学・分子薬理学部門レイサムファミリー教授、ボストン小児病院 教授 *
- Ulrich H. von Andrian, M.D., Mallinckrodt ハーバードメディカルスクール 免疫病理学分野教授

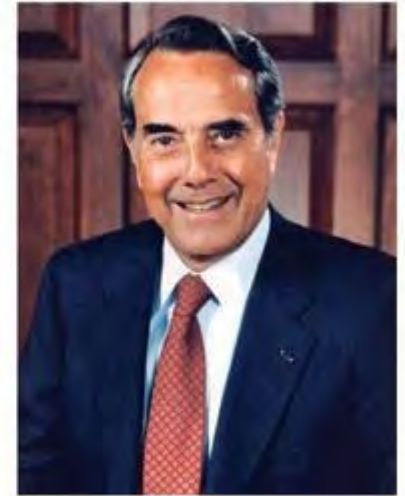
* 米国科学アカデミーまたは全米医学アカデミーの会員

バイドール法(1980年制定)

"過去半世紀の間にアメリカで制定された法律の中で、おそらく最も刺激的なものである。"1



Birch Bayh



Bob Dole

- 個人や政府の代わりに非営利機関が連邦政府による資金提供を受けた研究から生まれた発見物を所有することができる。
- 連邦政府による資金提供に基づく発見物の商業化を奨励する。
- 発明者と利益を共有することを義務付ける。
- 研究、新製品、教育機会の増加、経済発展を生み出す。

米国希少疾病用医薬品法(1983)では希少疾病の 治療薬の開発が奨励されている。

- ・ 医薬品、ワクチン、診断薬は、20万人未満の米国市民に影響を与える病気の治療を目的とする場合に対象となる。
- ・ 希少疾病用医薬品の7年間の市場独占権
- ・ 希少疾病用医薬品の開発費の半分に相当する税額控除、後に変更
- ・ 医薬品開発のための助成金
- ・ 希少疾患に適応する医薬品の迅速な承認

バイオテクノロジー企業を成功させるための基礎知識

- 独占的に保護された知的財産権
- 起業家的な能力と共同的な起業家環境
- 確かなビジネスプラン
- トップレベルの科学諮問委員会と取締役会
- 経験豊富なバイオ医薬品のリーダーと社員
- ベンチャーキャピタルによる強固な財政支援
- 政府、規制環境など支援的なインフラ

地理は重要。MIT、ホワイトヘッド研究所、ブロード研究所は、ケンダル・スクエアの中心にあり、そこには数百社のバイオテクノロジーや製薬会社がある。



ケンダルスクエア(1975年)-MITのメインストリートの 向かい側-汚染された産業跡地



ホワイトヘッド研究所はケンダル・スクエアの先駆け



MITのホワイトヘッド研究所(1983年)



ホワイトヘッドのエリック・ランダーが率いる ヒトゲノムプロジェクト



そして、ホワイトヘッド・ヒトゲノムプロジェクトは、ハーバード大学、マサチューセッツ工科大学、ハーバード教育により共同でブロード研究所を誕生させた。



Eric Lander
Broad President

Susan Hockfield
MIT President

Drew Faust
Harvard President

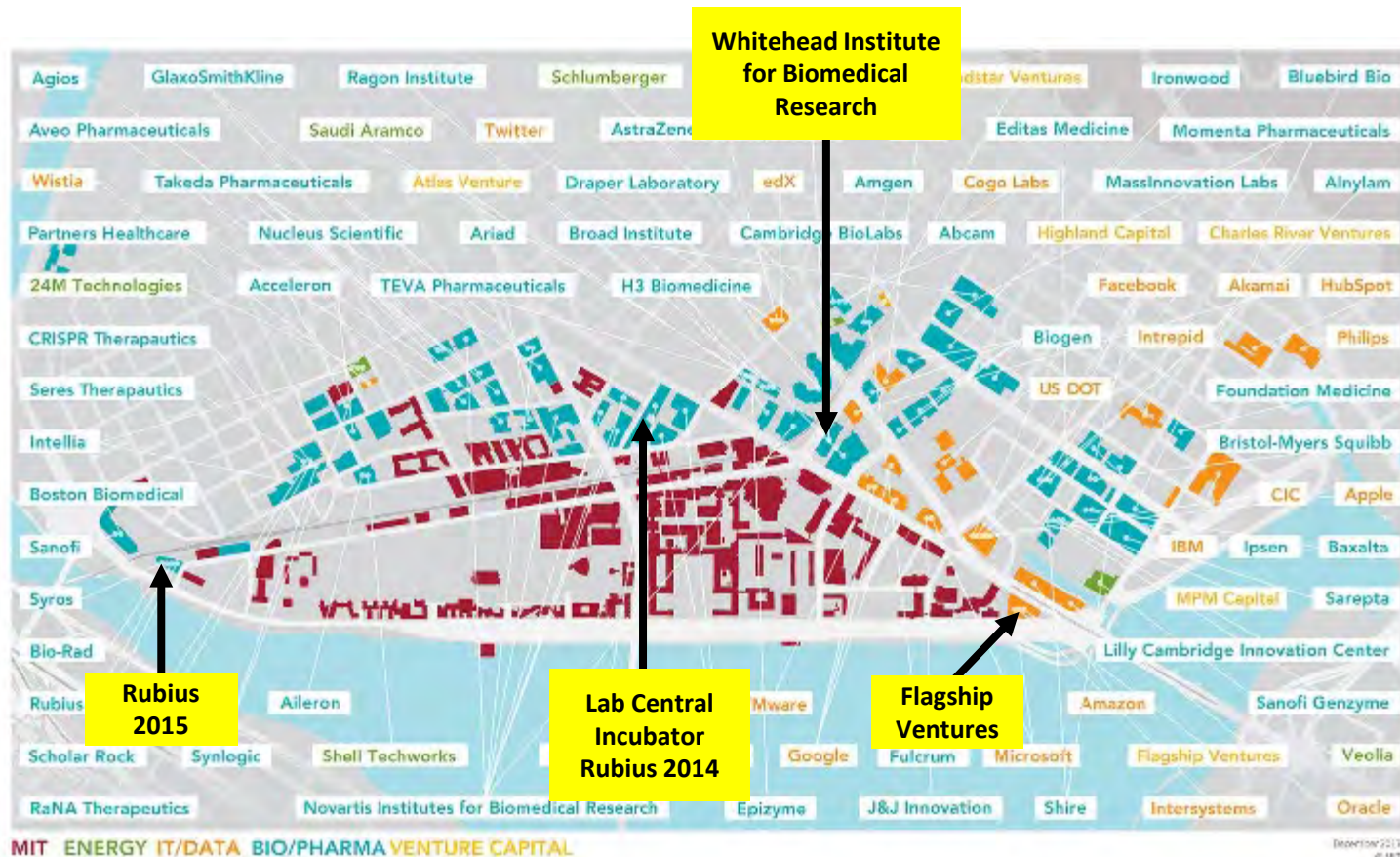
Eli Broad

Mrs. Broad

Governor Deval
Patrick

David Baltimore
Broad Board Chair

地理的に近く、徒歩圏内であることが重要：MIT、ホワイトヘッド研究所、ブロード研究所は、バイオテクノロジー、製薬、ベンチャー企業のエコシステムの中心地を形成している。



ラボセントラル

マサチューセッツライフサイエンスセンターが改修資金を提供した
シェアオープンラボスペース。

私の会社4社 (Rubius, Tevard, Carmine, Cerberus) を含む50社以上の
バイオテクノロジースタートアップを支援する非営利のインキュベータ。



ラボセントラル-:スタートアップ向けのモデルインキュベーター

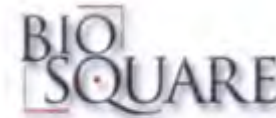
バイオテクノロジー企業:
10人までの研究者向けのプライベートラボ



多くの営利、非営利のインキュベーターが
マサチューセッツ州全体のライフサイエンス企業の
成長をサポート。



UMass Boston



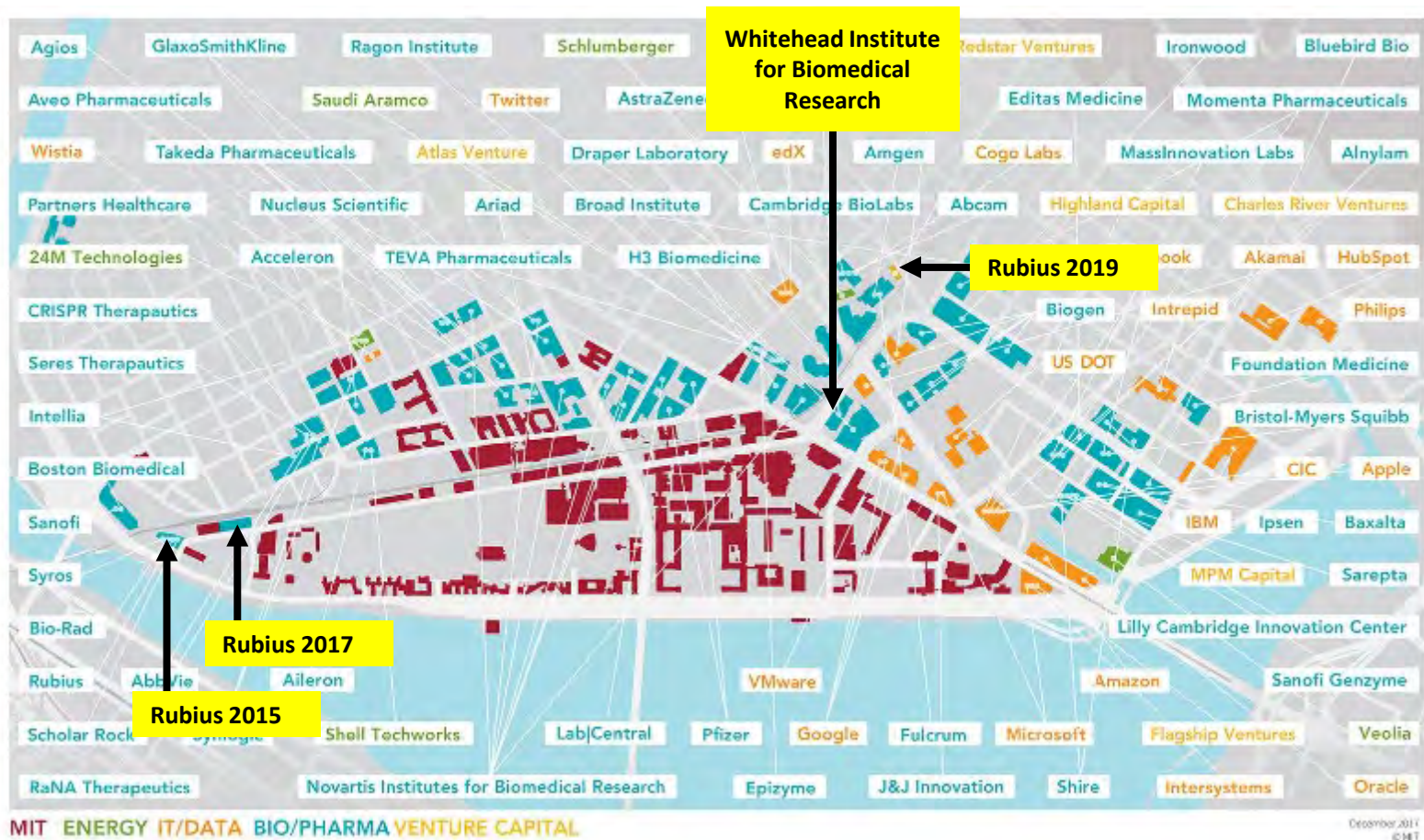
Informatics Lab



Cape Ann Business Incubator



MITやホワイトヘッド研究所、ブロード研究所の周辺には、最先端のバイオメディカル研究所のある多くの商業ビルが存在。



ケンダルスクエアとマサチューセッツ州東部には、起業家精神にあふれたバイオテクノロジー企業の発展に必要なすべての要素が広範囲に存在。

- 大学、研究機関、研究所、研究所の病院の大規模な集積地
- 豊富なインキュベータとレンタルラボスペース
- 多くのベンチャーキャピタル
- 上位18社の多国籍製薬企業
- 政府の支援と規制環境
- 外部での学業と仕事は週1回まで許可されている。
- あらゆるレベルのバイオ医薬品のリーダーと従業員
- 高度な訓練を受けた意欲的な博士号取得者
- バイオテクノロジーおよびバイオ医薬品企業の運営の経験がある個人 - 医学、ビジネス、財務、法律、政府規制の専門知識
- 学士技術者とエントリーレベルの従業員の訓練

