

第3期健康・医療戦略及び医療分野 研究開発推進計画の策定に向けた 現行施策の分析と提言

最終報告書 (外部公開向け)

JAN 2025



内閣府
Cabinet Office

Agenda

➤ 本調査の目的・アプローチ

医療分野研究開発に関連する環境変化

有識者アンケート/ヒアリングからの成果・課題

第3期健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画を策定する上で考慮すべき
社会動向・環境変化、および第2期までの取り組みの成果/課題を調査

主な調査論点	アプローチ		
	外部調査	有識者アンケート/ ヒアリング分析	政府内での 検討内容
 社会動向/環境変化: 医療分野の研究開発の方向性に影響を与える社会動向、および研究開発のトレンドとはどのようなものか	✓		✓ (本件に関連する検討と 外的環境の見立てが 整合しているかを検証)
 第2期までの取り組みの成果/課題: 第2期までの医療分野研究開発推進計画でどのような成果が得られたか。また今後の推進に向けてはどのような課題が挙げられるか	✓ (アンケート/ヒアリングにて 挙げられた点の詳細を 補完的に調査)	✓	

Agenda

本調査の目的・アプローチ

➤ 医療分野研究開発に関連する環境変化

有識者アンケート/ヒアリングからの成果・課題

医療分野の研究 開発における5つの大きなトレンド



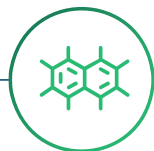
低分子からバイオへのモダリティシフト

- グローバルでの売上上位品目の大半がバイオ医薬品へとシフト
- バイオの中でも抗体医薬が引き続きメインとなるが、遺伝子・細胞治療など新しい技術も今後台頭していく



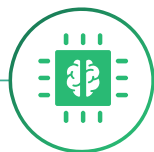
国内プレイヤーのプレゼンス低下

- 欧米ファーマが大きく成長する中、日系ファーマの売上は武田薬品を除き横ばい
- アカデミアにおいても、主要国の基礎生命科学の分野で論文数/Top10%補正論文数が伸びている一方、日本は横ばいの傾向にある



バイオテック・中国の躍進

- グローバルにおけるパイプラインの~2/3がバイオテック企業から創出
- 中国にて創薬研究が活発化しており、革新的医薬品の承認数やパイプライン数において米国に迫る位置に来ている



AI創薬の加速

- AIを活用した前臨床のパイプラインが増加傾向であり、かつ成功確度や開発スピードの面でも従来より高い成果が見えつつある
- これまでAIは低分子での利用が中心だったが、近年はバイオにも広がっており、今後のモダリティシフトの中でより活用価値が高まることが見込まれる

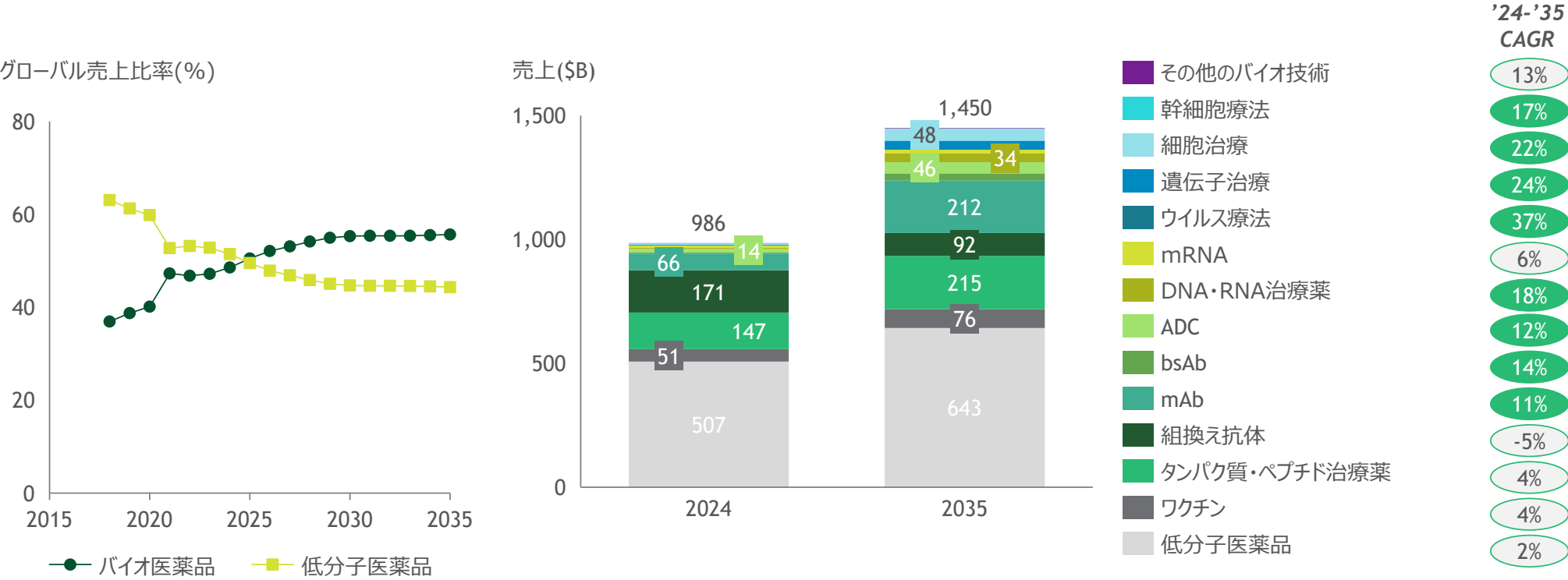


創薬エコシステムの発展

- アカデミア、製薬企業、スタートアップ、VCといったステークホルダーが集積した都市型エコシステムが欧米を中心に発展 (特にボストン、バイエリア、ロンドンなど)

グローバル医薬品市場において、今後抗体医薬のみならず多様なバイオ技術が台頭し、
バイオ医薬品が市場成長を牽引することが見込まれている

グローバル医薬品市場における技術別の売上構成/金額予測



Note: ジェネリック医薬品を含まない売上高にて作成
Source: Evaluate Pharma November 2024

1995年には売上上位品目の大半が低分子だったが、2023年には半数以上をバイオ医薬品が占め、かつ品目あたりの売上規模も大きくなっている

グローバル売上トップ20医薬品 (1995年と2023年の比較)

1995年

No.	製品名	会社 ¹	疾患領域	対象疾患例	バイオ	売上高 (\$M)
1	ザンタック	GSK	消化器疾患	消化性潰瘍		3,718
2	オメプラゾール	アストラゼネカ	消化器疾患	消化性潰瘍		2,763
3	エナラプリル	メルク	心疾患	高血圧		2,395
4	プロザック	イーライリリー	中枢神経疾患	大うつ病		2,066
5	シンバスタチン	メルク	心疾患	高脂血症		1,955
6	カプトプリル	BMS	心疾患	高血圧		1,612
7	タイレノール	J&J	中枢神経疾患	発熱		1,423
8	ゾピラックス	GSK	感染症	帯状疱疹		1,351
9	オーグメンチン	GSK	感染症	肺炎		1,318
10	フィルグラスチム	アムジェン	免疫疾患	好中球減少症	✓	1,309
11	ボルタレン	ノバルティス	筋骨格系疾患	関節痛		1,305
12	ノルバスク	ファイザー	心疾患	高血圧		1,265
13	メパコー	メルク	心疾患	高脂血症		1,260
14	インスリン	サノフィ/ノボ	内分泌疾患	糖尿病	✓	1,206
15	アダラート	バイエル	心疾患	高血圧		1,203
16	シロロキサシ	バイエル	感染症	敗血症		1,190
17	OC	J&J	泌尿器疾患	月経過多		1,178
18	メパロチン	第一三共	心疾患	高脂血症		1,149
19	ジルチアゼム	サノフィ (田辺)	心疾患	狭心症		1,138
20	ニフェジピン	ファイザー	心疾患	狭心症		1,133

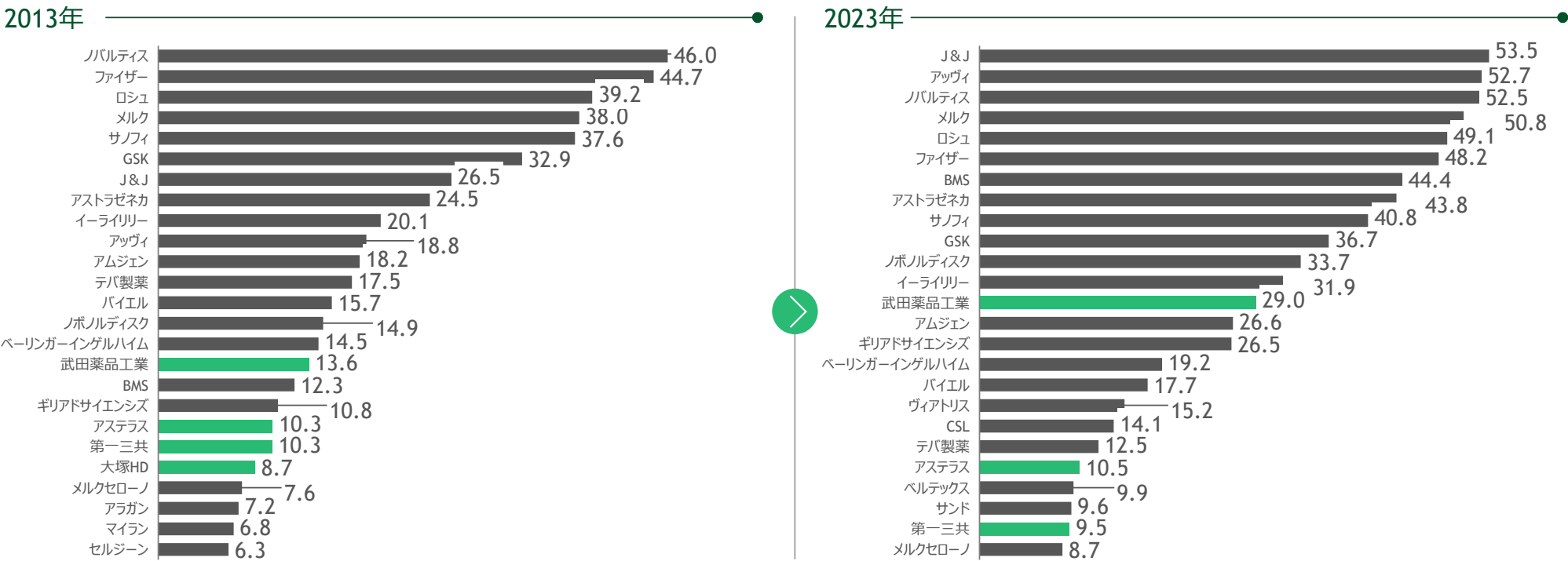
1. グローバルで中心的な販売会社
Source: Evaluate Pharma November 2024

2023年

No.	製品名	会社 ¹	疾患領域	対象疾患例	バイオ	売上高 (\$M)
1	キイトルーダ	メルク	がん	悪性黒色腫	✓	25,011
2	ヒュミラ	アッヴィ	免疫疾患	関節リウマチ	✓	14,404
3	オゼンピック	ノボ/ルンデイス	内分泌疾患	糖尿病	✓	13,897
4	エリキュース	BMS	心疾患	血栓塞栓症		12,206
5	ビクタリビ	ギリアド	感染症	HIV		11,850
6	デュビクセント	サノフィ	免疫疾患	アトピー性皮膚炎	✓	11,590
7	コミナティ	ファイザー	感染症	COVID-19予防	✓	11,220
8	ステラーラ	ヤンセンファーマ	皮膚疾患	乾癬	✓	10,858
9	ダルザレックス	ヤンセンファーマ	血液疾患	多発性骨髄腫	✓	9,744
10	オプジーボ	小野/BMS	がん	非小細胞性肺癌	✓	9,009
11	トリカフタ	ヘルテックス	呼吸器	嚢胞性線維症		8,945
12	ガーダシル 9	メルク	感染症	HPV感染予防	✓	8,886
13	ジャディアンス	バーリンガー	内分泌疾患	糖尿病		7,985
14	スキリージ	アッヴィ	皮膚疾患	乾癬	✓	7,763
15	トルリシティ	イーライリリー	内分泌疾患	糖尿病	✓	7,133
16	オクレプス	ロシュ	免疫疾患	多発性硬化症	✓	7,107
17	スパイクバックス	モデルナ	感染症	COVID-19予防	✓	6,671
18	ブレベナー	ファイザー	感染症	肺炎球菌感染症	✓	6,440
19	レブラミド	BMS	がん	多発性骨髄腫		6,097
20	エンレスト	ノバルティス	心疾患	心不全		6,035

国内プレイヤーのプレゼンス低下

過去10年でトップ25社に占める日本企業の存在感は減退
グローバル売上トップ25製薬企業の医薬品売上高 (10億ドル)



日本企業の
プレゼンス

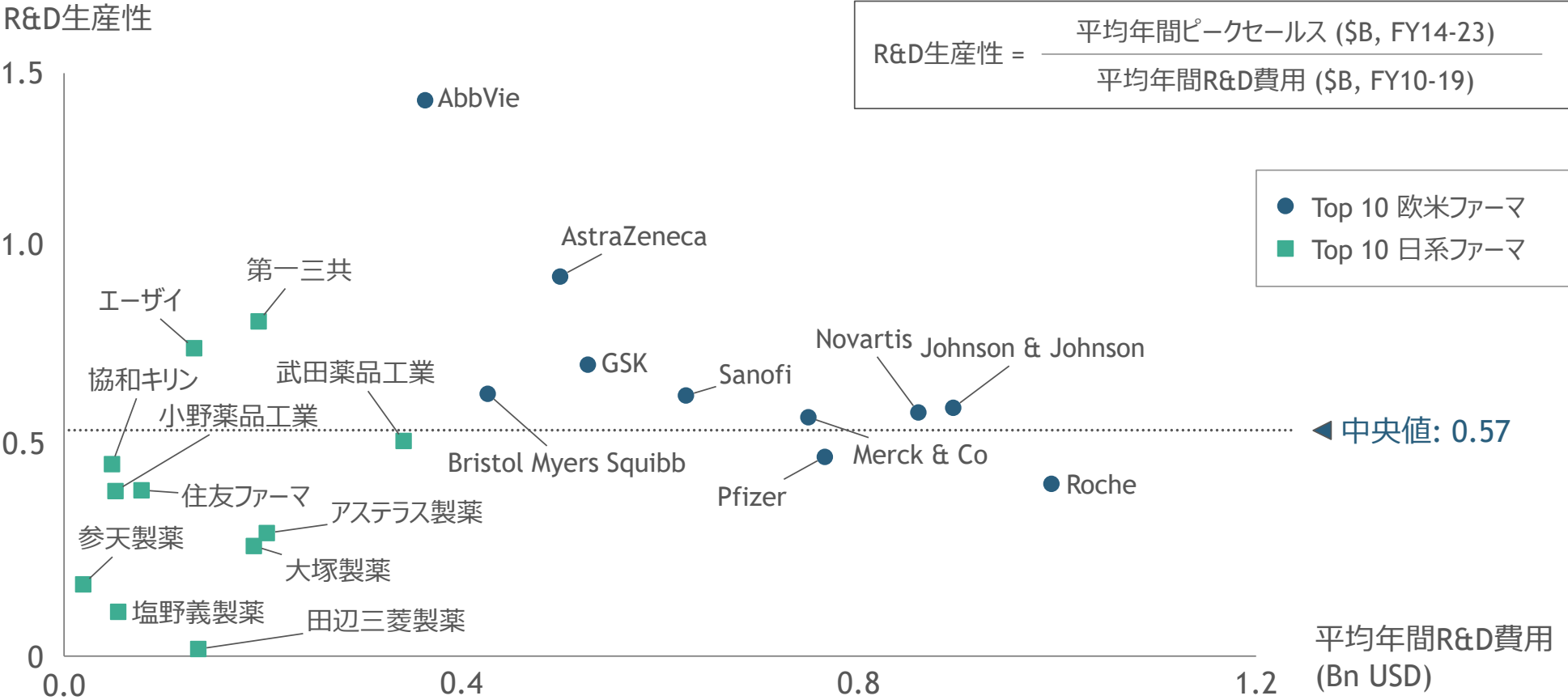


- 大型買収もあり武田薬品工業が売上を拡大しプレゼンスを高めているものの、他の日本企業は売上がほぼ横ばいもしくは減少している

Source: Evaluate Pharma November 2024

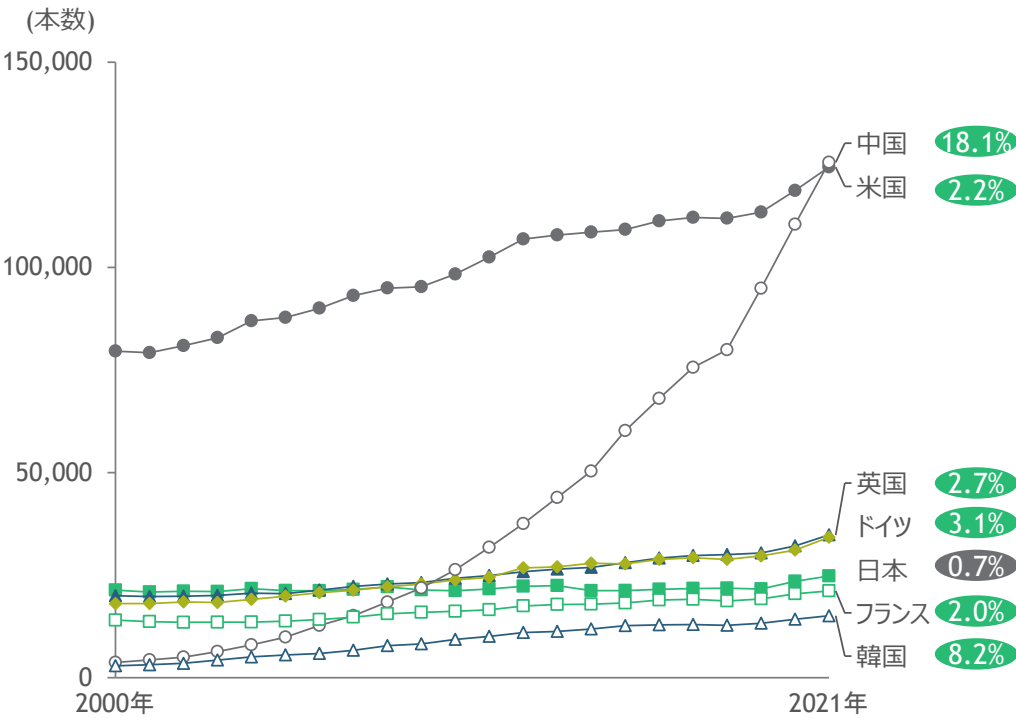
日系ファーマの研究開発の生産性は、欧米ファーマと比較すると相対的に低い傾向

欧米ファーマと日系ファーマのR&D生産性の比較

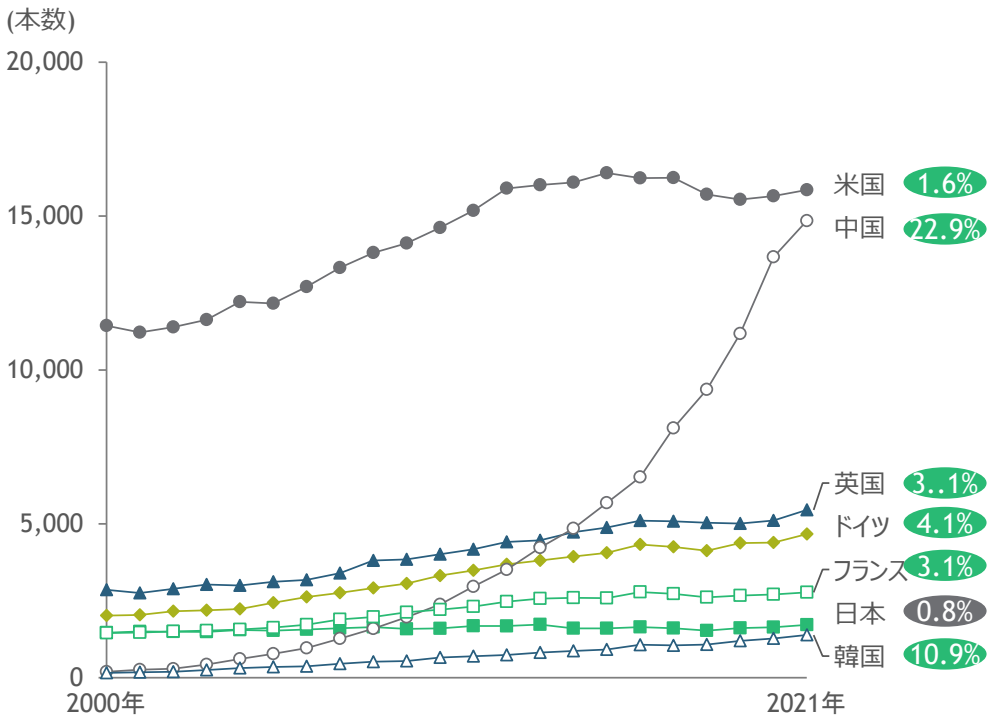


アカデミアにおいても、日本の基礎生命科学における論文数、およびTop10%補正論文数の増加が諸外国と比較すると低い

基礎生命科学分野における国別の論文数
(整数カウント法、出版年ベース)



基礎生命科学分野における国別のTop10%補正論文数
(整数カウント法、出版年ベース)



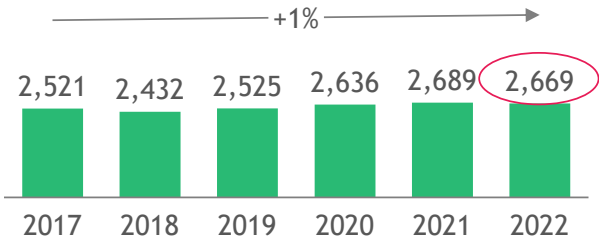
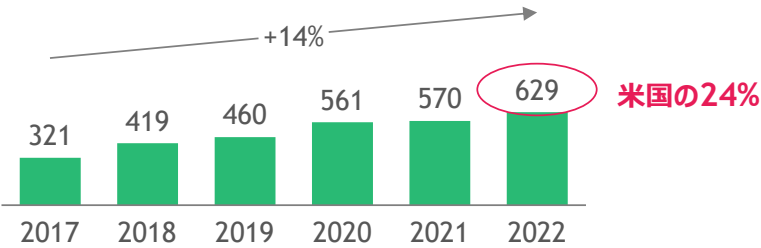
Source: 文部科学省 科学技術・学術政策研究所、科学研究のベンチマーキング2023、調査資料-329、2023年8月

中国はトップジャーナルに掲載された論文数で過去6年で右肩上がりの成長を続けている

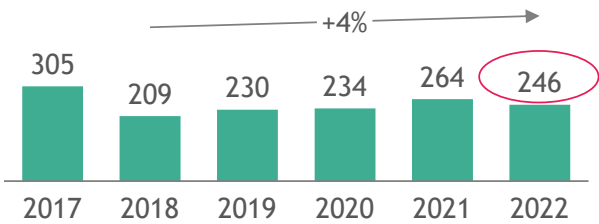
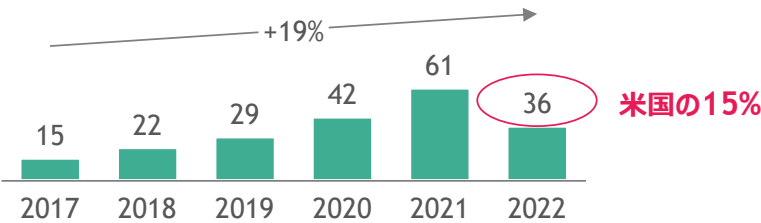
 中国からトップジャーナルへ掲載された論文数

 米国からトップジャーナルへ掲載された論文数

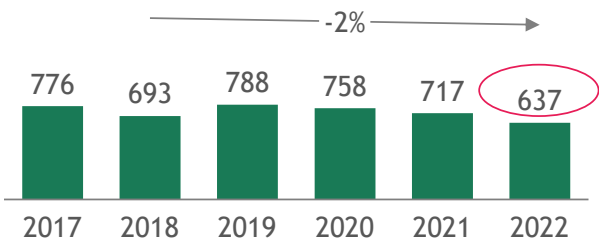
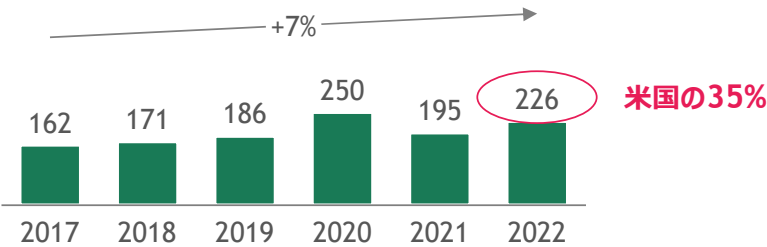
基礎科学¹



トランスレーショナル
サイエンス

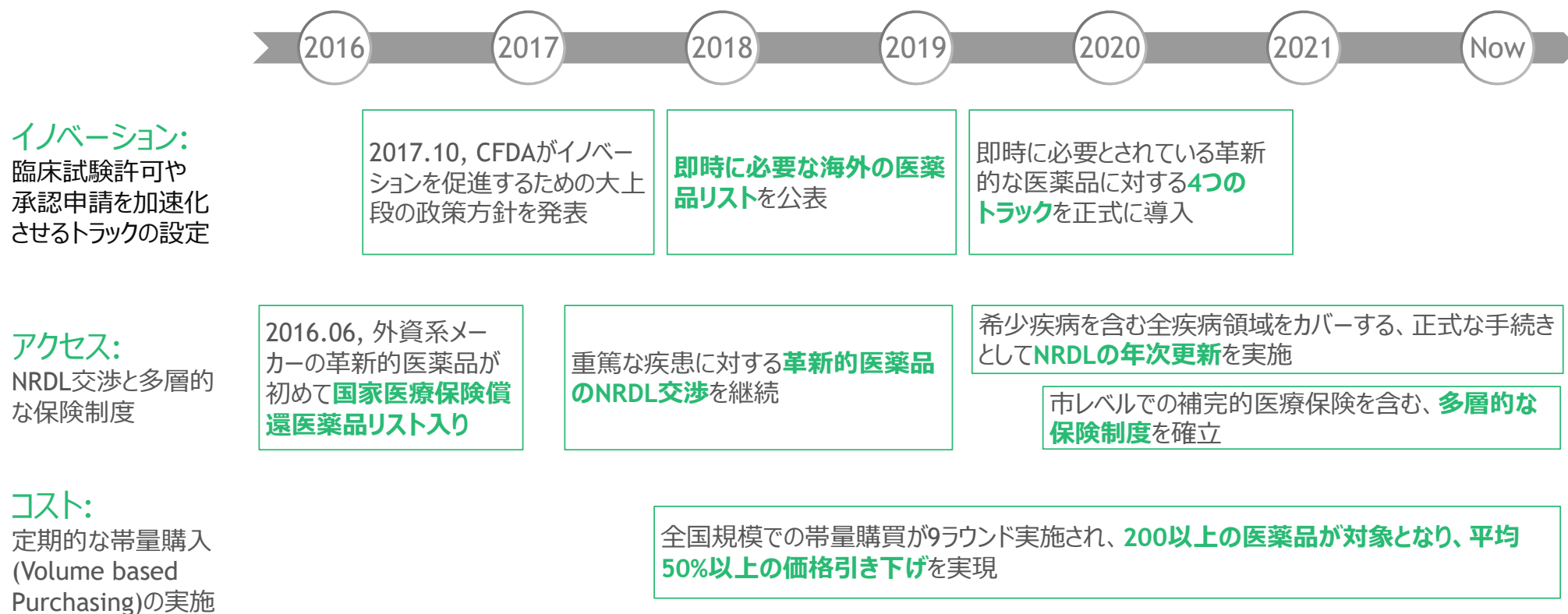


臨床研究



1. "Nature Biotechnology"および"Nature Medicine"といった2つのジャーナルでの論文件数をカウント
Source : Pubmed

中国が研究開発で急激な成功を遂げている背景として、国家主導でのイノベーション、マーケットアクセス、コストに関する強い支援があることが挙げられる



Source: エキスパートインタビュー



革新的な医薬品の治験・承認申請に対するアクセラレーショントラックを整備

アクセラレーショントラック

背景と根拠

プロセスの要件

		アンメットニーズ	有効性	イノベーション
条件付き承認	- 最も革新的でアンメットニーズの高い医薬品 - 第III相試験の免除が可能	臨床上の緊急性が高い分野の医薬品	現行の治療法と比較して有意な改善	ファースト・イン・クラスである必要
画期的治療薬指定	- 第III相終了前の先進的・革新的医薬品 6ヶ月以内での最優先審査の対象			革新的なMoAが望ましい
優先審査	- 重篤な疾患に対する新薬が申請可能 9~10ヵ月での優先審査の対象	臨床ニーズの高い医薬品	臨床効果の改善	
リアルワールドエビデンスを用いた新たな承認	- 特に希少疾患の場合、NDAへのサポートエビデンスとしてパイロットゾーンでの国内リアルワールドデータを使用¹ - 通常よりも早期での承認の対象	特別な要件なし		

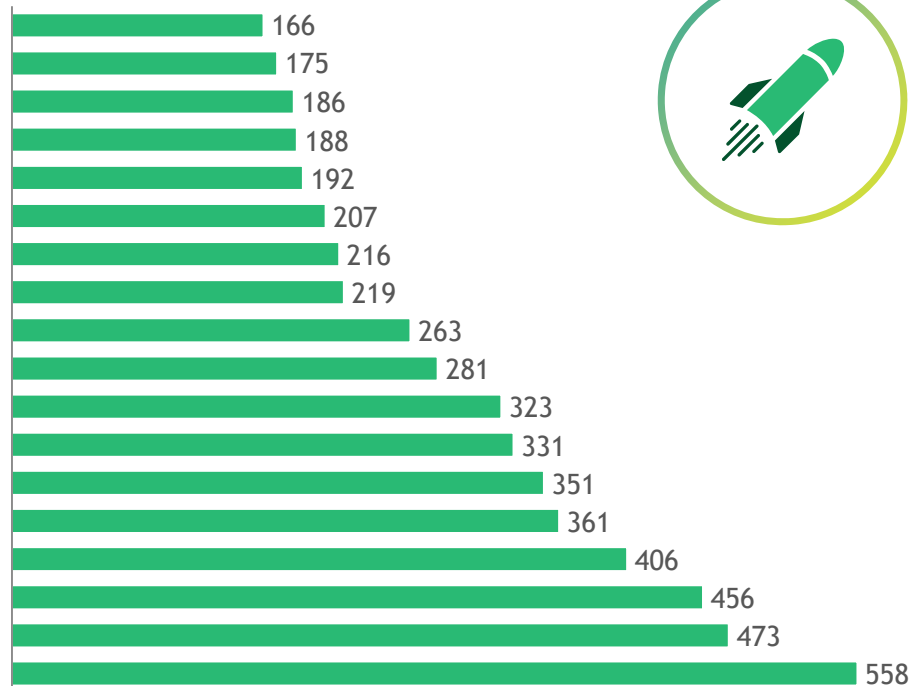
1. 中国国内でのリアルワールドデータが対象であり、適応外使用や海南ボアオのパイロットゾーンでのデータが含まれる
Source: エキスパートインタビュー



2018年以降、欧米ファーマは優先審査を活用して、承認申請・画期的治療薬指定を獲得

品目名	企業名	承認時期
Keytruda (Pembrolizumab)	MSD	7/2018
Dupixent (Dupilumab)	Sanofi	6/2020
Taltz (Ixekizumab)	Eli Lilly	9/2019
Cosentyx (Secukinumab)	Novartis	3/2019
Tremfya (Guselkumab)	Janssen	12/2019
Xgeva (Denosumab)	Amgen	5/2019
Opdivo (Nivolumab)	BMS	6/2018
Rituxan (Rituximab)	Roche	11/2019
Darzalex (Daratumumab)	Janssen	7/2019
Repatha (Evolocumab)	Amgen	8/2018
Eylea (Aflibercept)	Bayer	2/2018
Imfinzi (Durvalumab)	AstraZeneca	11/2019
Perjeta (Pertuzumab)	Roche	12/2018
Hemlibra (Emicizumab)	Roche	11/2018
Lucentis (Ranibizumab)	Novartis	5/2018
Benlysta (Belimumab)	GSK	7/2019
Cimzia (Certolizumab pegol)	UCB	7/2019
Trulicity (Dulaglutide)	Eli Lilly	2/2019

日数（NDA提出から承認まで）



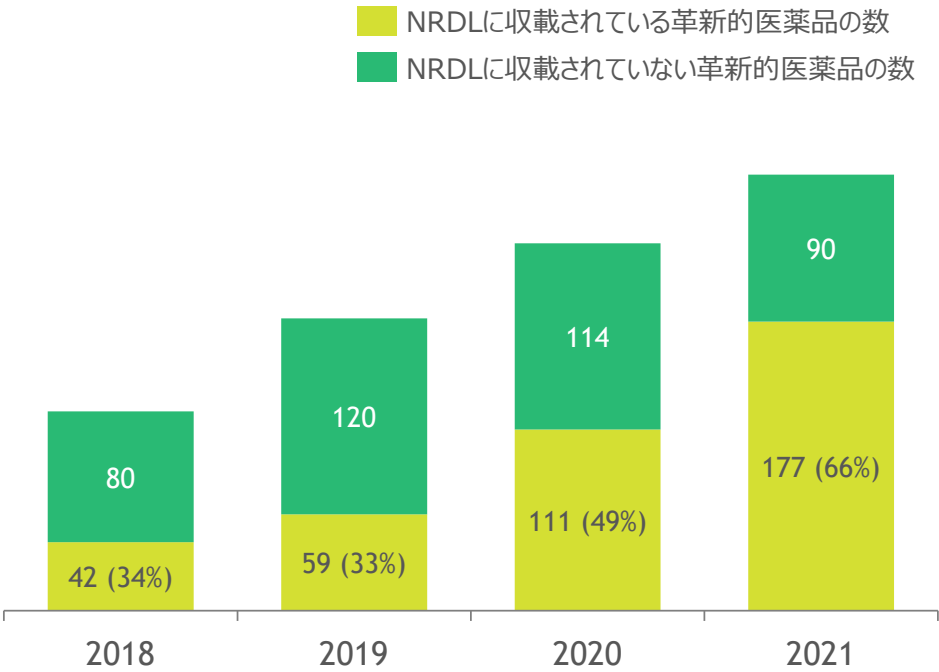
(参考) 優先審査の適用を受けない一般的な承認審査では、19.4ヶ月(≒580日)程度の時間を要する¹

1: 中国の早期上市承認プロセス5つを比較 (中国医薬)
Source: DXY ; 文献調査; ボストン コンサルティング グループ分析

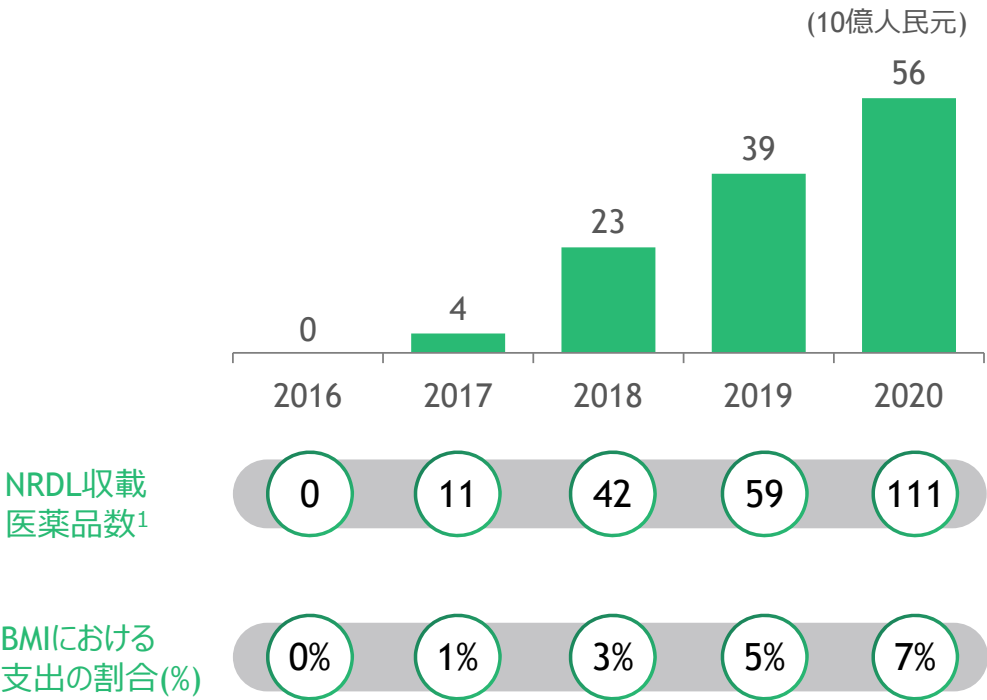


国家医療保険償還医薬品リストに収載される革新的医薬品の数が増加し、その結果革新的新薬に対する支払い金額も増加傾向にある

NRDLに収載される革新的医薬品の数が増加し...



...公的保険(BMI)での支出が急速に増大

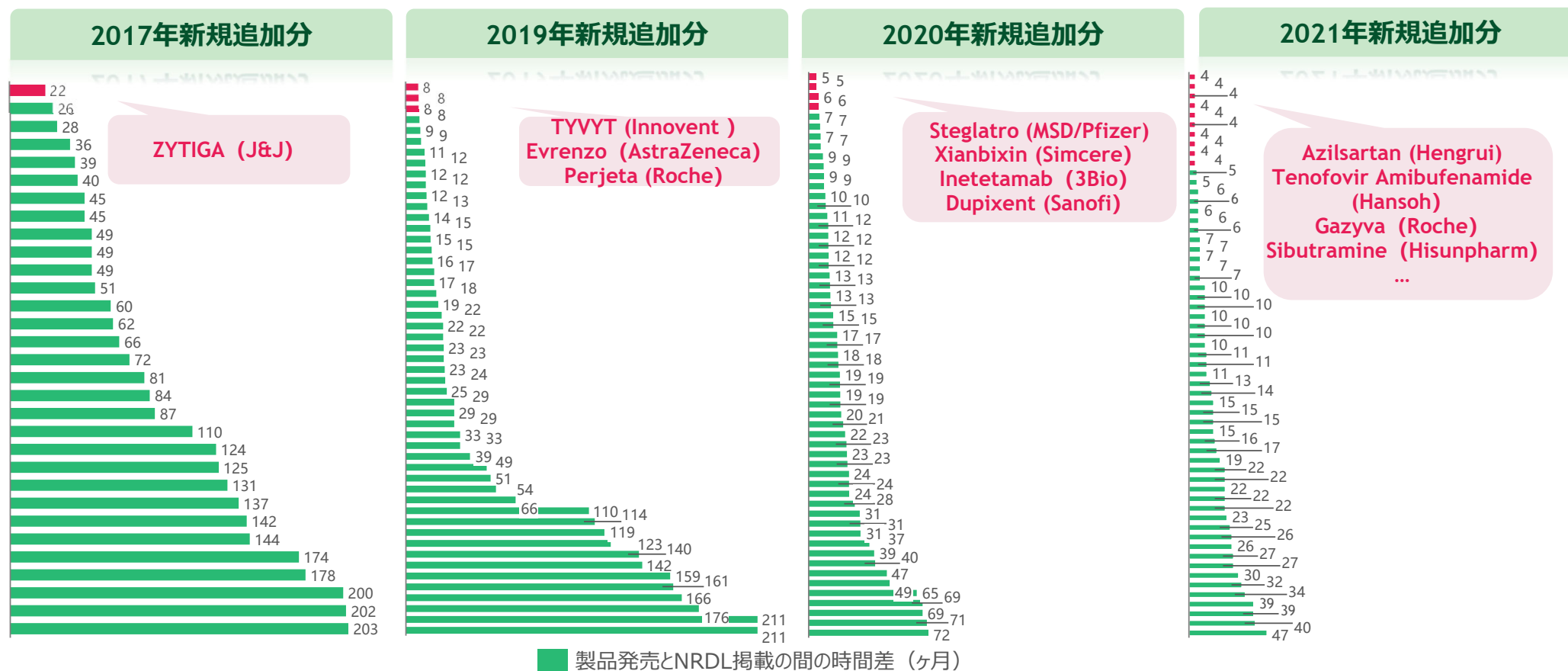


1. 前年度のNRDL交渉によって掲載され、当該年度より有効となった医薬品数

Source: 2019年医療保障発展全国統計速報Menetデータベース; 産業情報化部統計報告; デスクトップリサーチ; ボストン コンサルティング グループ分析



上市からNRDLへの登録までの時間差は改善傾向にあり、2021年時点で中央値で11ヶ月まで短縮化された

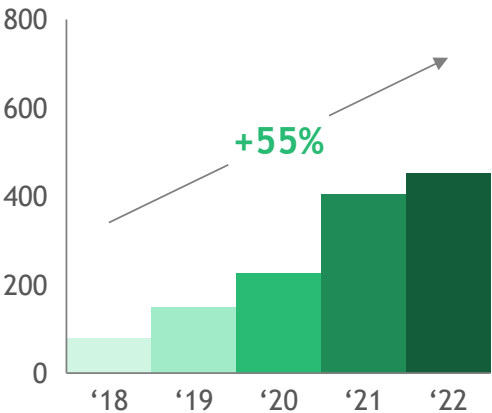


Source : GBI; DXY; ボストン コンサルティング グループ分析

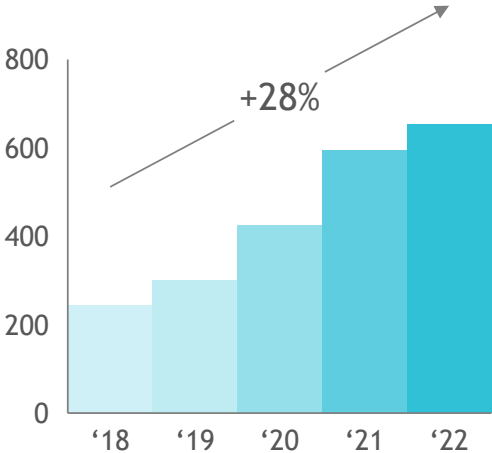
AI創薬の活用対象として、従来の分子設計のみならず、疾病理解やトランスレーショナルリサーチでの活用も近年活発化している

AI創薬に関する直近5年のPublication数 目的別内訳

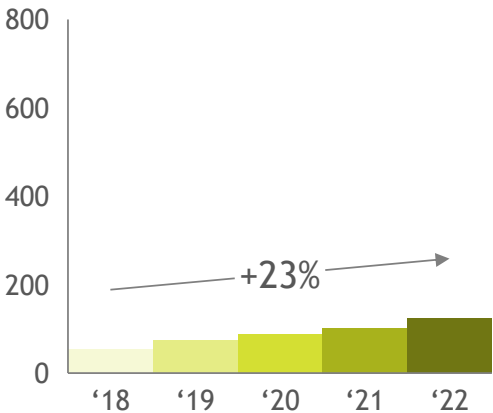
① 疾病理解



② 分子設計



③ トランスレーショナルリサーチ
(有効性・ADMET予測)



活用目的の詳細カテゴリ

- AIを活用した表現型スクリーニングと画像解析
- 標的と疾患を結びつけるデータマイニング
- ドラッグ・リパーピング
- タンパク質構造・動態のモデリング
- バイオマーカーの特定

低分子関連

- バーチャルスクリーニングと結合解析
- 構造活性相関の予測
- De novo ligand生成
- ADMEの予測

ワクチン関連

- エピトープの選択・予測・結合解析
- コドン、5'・3' UTR(非翻訳領域)の最適化
- 脂質ナノ粒子の最適化

抗体関連

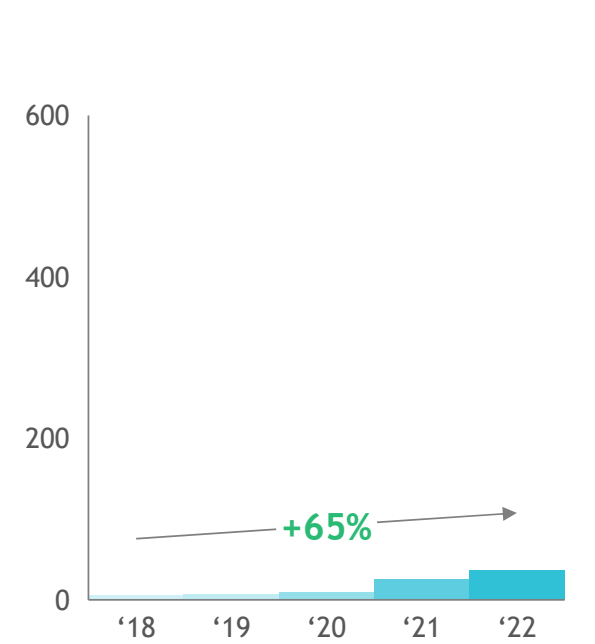
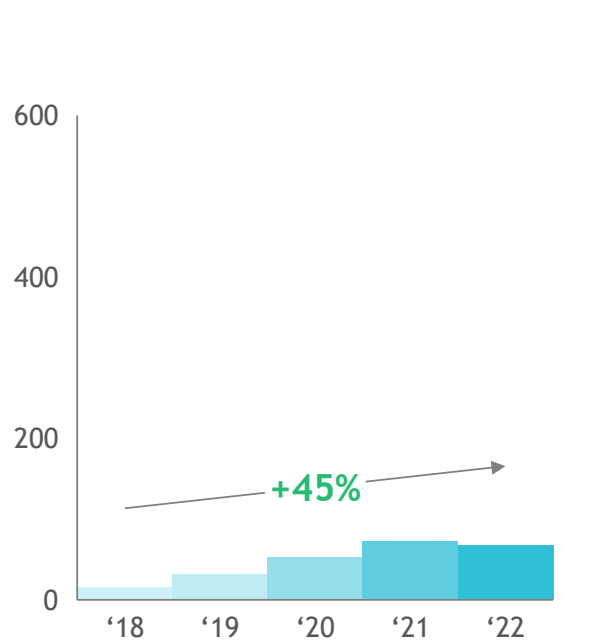
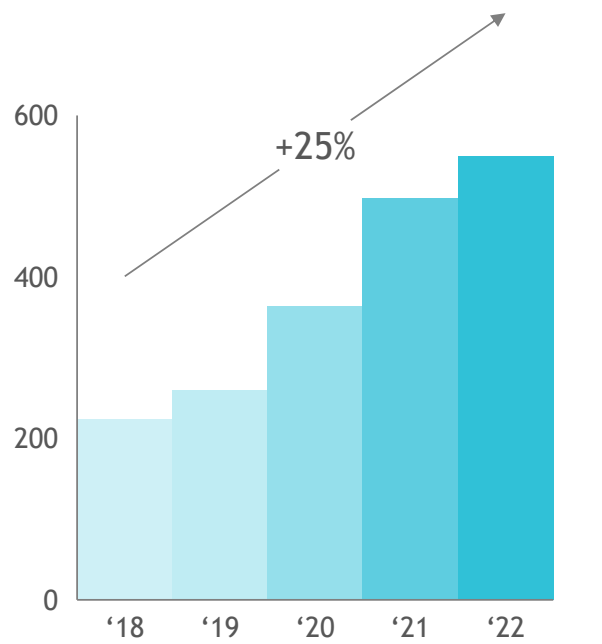
- mABライブラリのスクリーニングとレパートリー選択
- 抗原-抗体結合予測と最適化
- 新規の抗体設計
- 抗体特性の予測

- 毒性およびオフターゲットの予測
- PK/PDシミュレーション
- QSPモデリング

Source: "Unlocking the potential of AI in Drug Discovery" Wellcome (June 2023) This report and its findings were produced and co-authored by Wellcome and BCG.

モダリティ別に見ると、低分子領での事例が過去より多いものの、抗体をはじめとする
バイオロジクスへの活用も急速に増加している

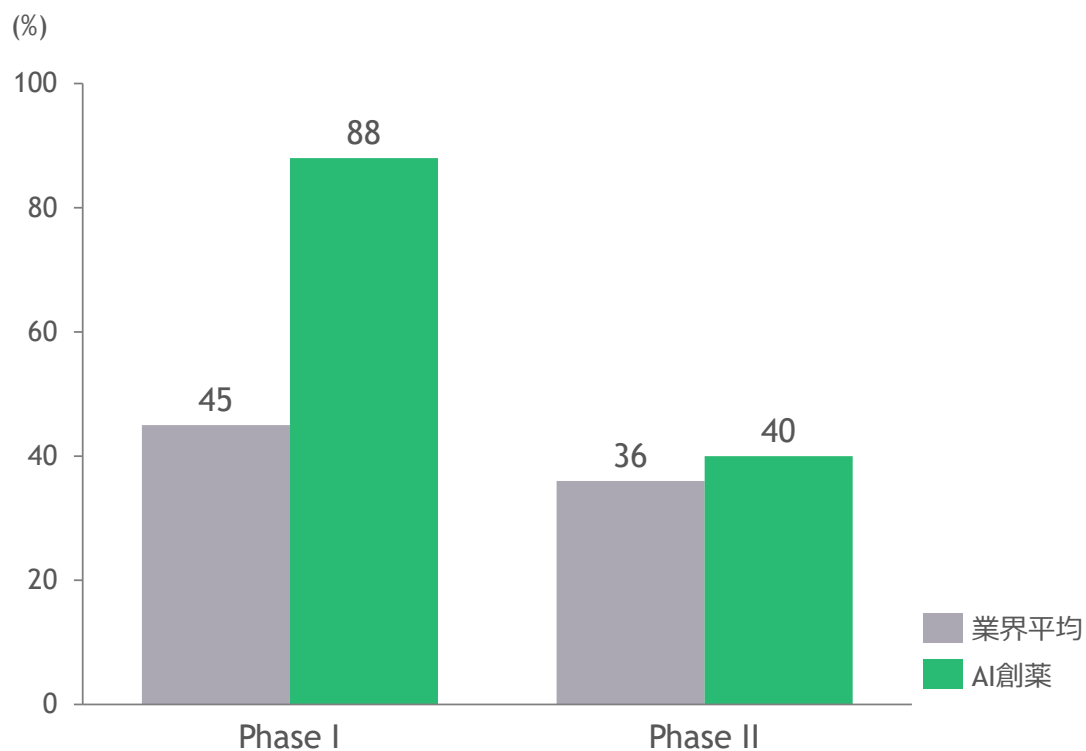
AI創薬のうち分子設計に関する論文数 モダリティ別内訳



Source: "Unlocking the potential of AI in Drug Discovery" Wellcome (June 2023) This report and its findings were produced and co-authored by Wellcome and BCG.

主にADME・安全性面を検証するPhase1においては、AI創薬による成功確率向上というインパクトが既に出始めている

AIにより見出され臨床開発入りした開発品のフェーズ別成功率



Phase1の成功確率は従来に比べてAI創薬により大きく向上

- AI創薬由来の候補分子は、Phase1でメインとなるADME・安全性面の検証をほぼPassできる状態になっている
- 優れた動態・安全性プロファイルを持つ候補分子が、実際にAI創薬で設計可能になっていることを示唆している

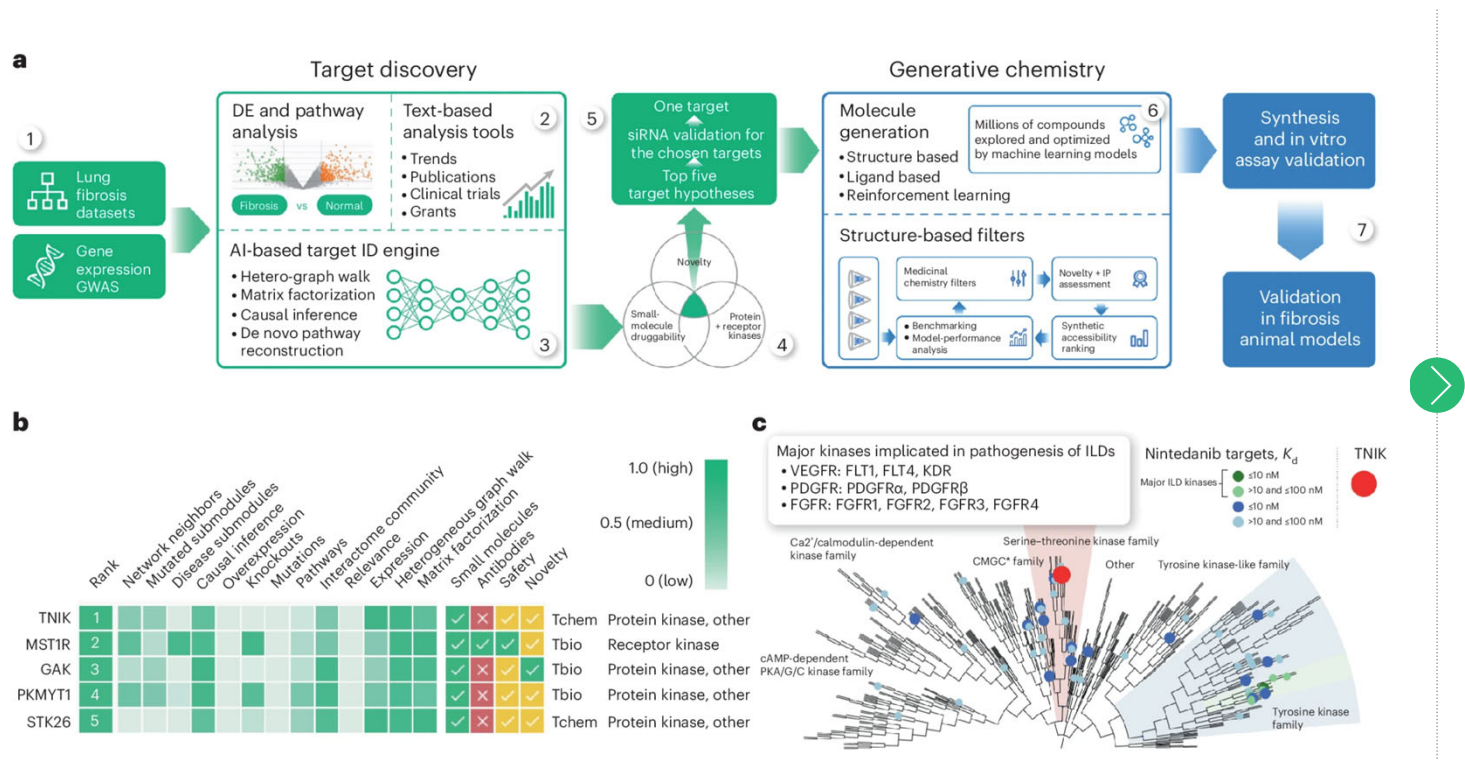
一方で、Phase2における成功確率は、従来の業界水準に留まる

- AI創薬によるターゲット・コンセプト同定は進んでいるものの、PoC取得段階でドロップするものが多いことから、未だ改良の余地が存在することが示唆される
- ただし、ドロップした6つのうち、臨床成績が原因でドロップしたものは2つであり、他4つはビジネス上の理由により中止判断となっている
(このため、実際の成果はより多くの事例で要検証)

Source: エキスパートインタビュー; How successful are AI-discovered drugs in clinical trials? A first analysis and emerging lessons. Drug Discovery Today, 29(6), 104009.
<https://doi.org/10.1016/j.drudis.2024.104009>

近年では、LLM+拡散モデルを組み合わせたE2Eでの生成AI駆動創薬も登場し、18ヶ月で第2相臨床試験へ到達した例もある

Insilico Medicineはターゲット同定～分子デザインプロセスを対象に生成AI駆動創薬パイプラインを構築し、約18ヶ月の短期間で特発性肺線維症治療薬を第2相臨床試験へ (Nature Biotechnology, 2024)



パイプラインの一部ではなく全体を生成AI化したシナジーにより高速開発を実現

Source: Ren, F., Aliper, A., Chen, J. et al. A small-molecule TNIK inhibitor targets fibrosis in preclinical and clinical models. Nat Biotechnol 43, 63-75 (2025).
<https://doi.org/10.1038/s41587-024-02143-0>

生命科学分野のEcosystem rankingにて、東京は25位に留まり、特にTalentとInfrastructureのスコアが低い

		Ranking	Performance	Funding	Knowledge	Talent	Infrastructure	Policy
シリコンバレー		#1	10	10	10	10	10	10
ボストン		#2	10	10	8	9	10	10
ニューヨーク市		#3	10	10	8	7	10	10
ロンドン		#4	9	10	7	10	10	6
サンディエゴ		#5	10	9	8	4	9	10
ロサンゼルス		#6	7	7	8	8	8	10
ワシントンD.C.		#7	8	8	7	4	8	10
フィラデルフィア		#8	9	8	5	5	7	10
上海		#9	9	9	10	5	4	4
リサーチトライアングル		#10	8	6	4	9	5	10
シアトル		#11	8	8	9	6	3	10
ベルン-ジュネーブ		#12	8	5	2	9	7	5
テルアビブ		#13	7	9	6	2	8	3
パリ		#14	6	6	3	6	9	5
ソウル		#15	6	6	10	3	7	4
北京		#16	7	7	10	6	1	4
アムステルダム-デルタ		#17	6	4	2	10	9	3
シカゴ		#18	6	6	6	4	8	10
チューリッヒ		#19	3	4	4	8	4	5
シンガポール		#20	1	5	3	10	6	1
バンクーバー		#21	5	5	4	2	4	2
コペンハーゲン		#22	3	2	1	8	6	1
ハートフォード		#23	5	1	5	2	4	10
メルボルン		#24	4	1	1	7	6	3
東京		#25	2	7	9	1	3	6

ランキング作成の手法

各観点にて以下の要素を考慮
(主要な項目のみ抜粋):

- Performance:** エグジットの件数と価値、スタートアップ数・割合、評価額10億ドル以上のスタートアップ
- Funding:** アーリーステージの資金調達件数・金額、国内投資家数、投資家の平均経験年数とエグジット比率、アクティブ投資家の割合
- Knowledge:** 特許数と増加率、高度技術における特許数、論文の影響力
- Talent:** 生命科学分野における上位大学の平均スコア、大学の平均研究インパクト、上位大学におけるSTEM分野の学生数
- Infrastructure:** アクセラレーター・インキュベーター数、研究開発拠点数
- Policy** 公的な研究開発予算額、臨床試験承認までの日数

Source: The global startup ecosystem report 2021 Life sciences edition, Startup Genome, Oct 2021; ボストン コンサルティング グループ分析

世界的に評価の高いエコシステムでは、アカデミア・製薬会社・バイオベンチャー・VCなどが集積し、行政支援もありながら創薬産業を成長させてきた

🇺🇸 サンフランシスコ		🇺🇸 ボストン・ケンブリッジ	
ステークホルダーの動き	概要	Stanford、UC Berkleyなどの有力大学に加えて、1,480以上のライフサイエンス企業が集積。ベイエリアにはVC・弁護士といった企業育成の支援体制が形成されており、創薬ベンチャーが事業展開しやすい環境が整っている	
	アカデミア	• Stanford、UC Berkeleyなど有力な大学が集積。スタンフォード大学の遺伝子組み換え技術をもとにGenentechが成功するなど、バイオ分野での研究が盛ん	
	製薬会社	• Genentech、Gilead、BioMarinといったグローバルファーマが集っており、Genentechから技術者がスピノフして新たな企業を設立するなどバイオベンチャーも活発	
	VC・インキュベーター	• Mission Bio Capitalなどによるアーリーステージの投資が盛ん。またMBC BioLabsなどのインキュベーション施設も提供されている • IndieBioのようなライフサイエンス特化のアクセラレーターが存在し、ラボスペースの提供やネットワーキングなどの支援を行う	
	行政	• バイオ企業をサンフランシスコに誘致し、UCSFなどの大学・研究機関と連携するために“Mission Bay Project”を推進。リサーチパークの建設によってバイオテック企業が集積を進めた	
		Harvard、MITといった全米有数の大学があり、世界最高峰の人材が集積。大手製薬会社の拠点設置が進み、CIC・MassBioなどの支援を得ながら産学連携が強く推進されている	
		• Harvard、MITなどの全米有数の大学が集積し、テクノロジー分野のみならず、経営・ビジネス分野も含めた優れた人材が輩出されている	
		• アカデミアやバイオベンチャーとの連携を目的に、大手製薬会社がボストンに拠点を設立。近年では日本の製薬会社のCVCもボストンエリアに拠点を構える傾向	
		• 民間の非営利インキュベーション組織であるMassBioによって教育プログラムやイベント・プログラムなどを開催 • イノベーションハブであるCICでは、スタートアップや大企業、VCが入居しており、ステークホルダー間での連携/交流が盛んに行われる	
		• マサチューセッツ州政府によるライフサイエンス法の制定によって、教育・学術研究・事業育成支援に対して10年間で10億ドルを拠出。ボストン市でもイノベーション地区開発やスタートアップコミュニティ発展のための情報提供を強化	

Source: 経済産業省、バイオコミュニティの形成、20年10月

英国・中国におけるエコシステムの形成・発展過程



土台

- 有力大学によるアカデミアシーズや有力ファーマは存在
- 一方、豊富なアカデミアシーズが産業の拡大に繋がっていない
- 魅力的な米国市場に研究活動が流出 ("富の流出国")

形成

- “大きなリスクは政府”の合言葉の下、政府が産学の活動を如何に支援できるかを突き詰め、産業界と共同で産業ビジョンを策定
- 産業化支援、リスクマネー提供等を通じて政府が創薬力強化を
実行まで支援
 - BBSRC¹⁾が年900億円超の予算規模で大学スピンアウトを支援
 - 形成期のバイオベンチャー資金調達額の40%は公共セクター²⁾
 - CGT Catapult (細胞・遺伝子治療領域特化の産業化機構)
設立により、スケール化に向けた民間の不足機能を提供 (治験
デザイン、製造プロセス開発・施設供与、薬事償還相談、等)
- NHS³⁾主導で臨床試験の患者リクルーティングを効率化

発展

- エコシステムの成熟化により民間からの資本流入増加
 - 公共セクターからのベンチャー資金調達額は15%に減少 (21)
- 一方、調達額・ラウンドサイズ面で米国レベルを引き続き目指す



- 国内の優秀人材が海外に流出し、帰国しない
- 国内創薬力に乏しく、ジェネリック製造が中心であるなか、新薬
創出国への転換を目指す政府方針を決定

- 国がバイオ産業を重点産業化、各地方でのクラスター立ち上げ
 - クラスター内のインキュベータ等の育成定量目標を設定
- 不足人材を海外から招聘 (海外留学/就職者の呼び戻し含む)
 - 本人・家族への金銭的インセンティブ、欧米同等の収入水準
により、国外流出人材呼び戻し/外国人専門家を招聘
- 欧米からの帰国研究者が研究したシーズに官主導で資金注入
 - 特に新規モダリティを重点的な投資対象として設定
 - 臨床試験のフェーズ通過ごとに奨励金支給
- 開発～事業化を一気通貫で可能にする周辺サービス整備
 - CRO/CMO/CDMO、実験動物、医療機関の臨床研究設備

- 豊富な政府投資に惹かれて海外メガファーマが流入し、インキュ
ベータ機能を提供 (ベンチャーへの資金・ノウハウ・人材援助)
 - RocheによるAccelerator、AZ&上海政府のサイエンスパーク

1. Biotechnology and Biological Sciences Research Council、2. 2017年の英国バイオベンチャー資金調達額内訳 (UK Bioindustry Association, 2021)、3. National Health Service
Source: エキスパートインタビュー

成功しているエコシステムは海外リソース (資金・ケイパビリティ・人材) も最大限活用

諸外国エコシステムの特徴		生命科学領域の 外国直接投資総額 (2022、億円)	バイオテック企業数 ¹⁾ (2023)	基礎生命科学・臨床 医学領域の論文数 (2021)	医薬品製造業の 研究者数 (2019)
	- 豊富なリスクマネーの投下 - 最高峰の人材、高度な臨床研究可能な医療機関の存在	6,830	17,510	257,904	94,000
	- 政府・産業界合同でのライフサイエンス産業戦略提示 - 政府による包括的な基盤整備 - カタパルト (産業化機構)、データ基盤 / バイオバンク、等	1,609	1,843	72,817	n.a.
	- 後追い戦略での急速なキャッチアップ - 高位ポスト・高額報酬による海外からの人材誘致	1,641	1,860	204,682	49,433
	n.a.	225	426	52,550	20,417

参考: 科学工学分野の米国留学者数は68,290人 (2020) ※日本の76倍

1. HQを当該国に置くバイオテクノロジーの研究開発・生産に従事する企業
Source: Life sciences competitiveness indicators (UK政府, 2023) 1GBP=1JPYは2022年平均レートで換算; 文部科学省 科学技術・学術政策研究所、科学技術指標2023、調査資料-328、2023年8月

Agenda

本調査の目的・アプローチ

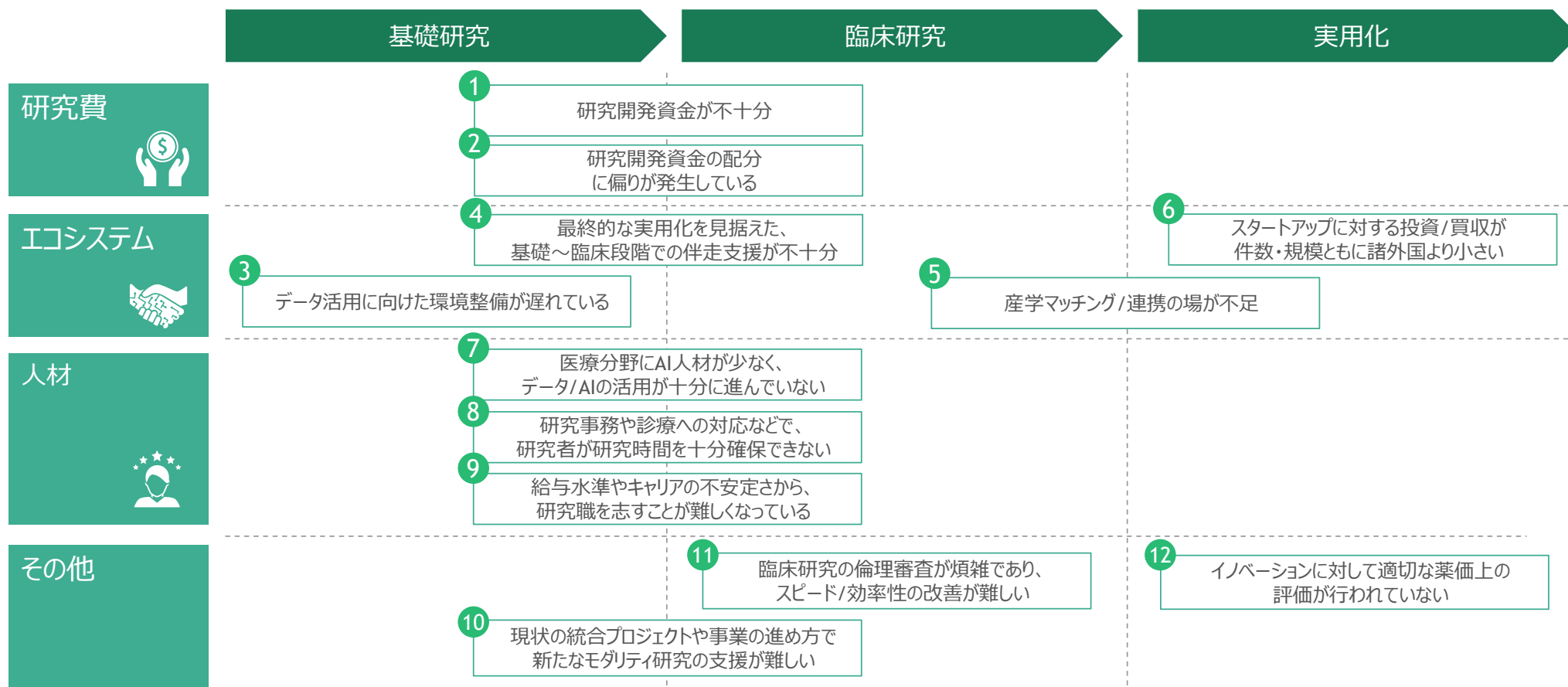
医療分野研究開発に関連する環境変化

➤ 有識者アンケート/ヒアリングからの成果・課題

サマリー：革新的先端研究開発支援事業に対してポジティブなフィードバックが得られた一方、研究費・人材・エコシステムといった観点での課題が確認された
アンケート・ヒアリングから得られた4つの主なポイント



研究費・エコシステム・人材面を中心に、12個の詳細な課題が挙げられた アンケート・ヒアリングからの詳細課題の全体像



研究費：研究開発資金の少なさに加え、その配分の偏りについて課題が指摘されている

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

関連する調査結果

1

研究開発資金が
不十分

- AMEDから研究資金は提供されているが、その規模が絶対的に不足している (私立大学医学部)
- 研究開発予算が他の先進国に比べて限られており、大規模なプロジェクトや基礎研究への投資が不足 (私立大学医学部)

- 諸外国の医療分野研究開発費予算と比較すると、我が国は1,500億円規模に対して、米国は7兆円、中国は1.3兆円規模と乖離

2

研究開発資金の
配分に偏りが
発生している

基礎/臨床間でのバランス:

- AMEDの方針として短期間での成果を重視しており、結果のしやすい特定の領域に集中している印象 (私立大学医学部)
- 実用化が難しい基礎研究に資金投下している印象があり、成果に繋がりやすいテーマを採択すべき (創薬ベンチャー)

研究分野間でのバランス:

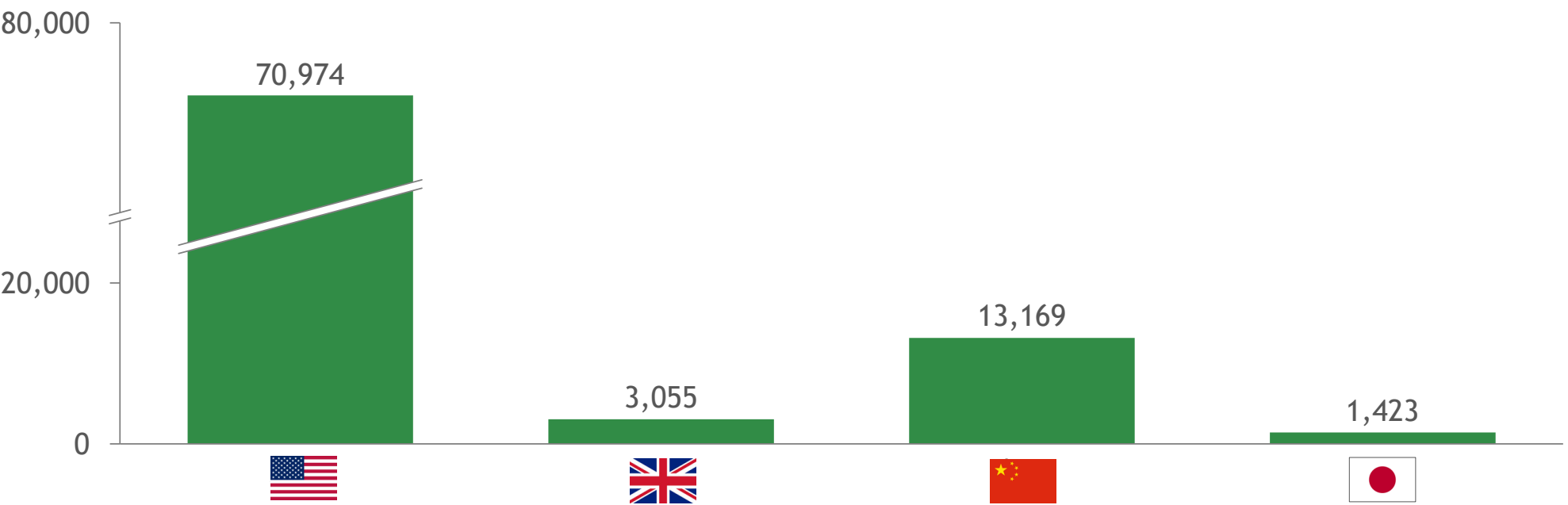
- 予防や未病の対策を目的とした技術開発においては支援を得られにくい (国立大学医学部)
- 希少疾患などで重篤なものは、営利目的の企業ではなくアカデミアが主導で取り組めるように研究費等の補助を充実化すべき (国立大学医学部)

回答者によって現状の偏りに対する捉え方は異なり、いずれにおいても基礎/臨床への配分バランスが求められていると理解

① 研究開発資金が不十分

米国が7兆円、中国が1.3兆円規模で医療分野への研究開発予算を用いている中で、我が国は1,500億円程度と相対的に低い状況

2022-2023年における医療分野研究開発予算 (億円)



Note: 1. 中国の2019年科学技術部予算内訳より2022年予算を推計。2019年から2022年の予算総額増加率139.5% (2019年2兆2143億元→2022年3兆900億元) を2019年医療分野予算額9,437億円に乘算し算出。2. 米国は2023年度のNIH予算額 3. 英国は2022年度のUKRI予算のうち医療研究分野の予算額とNIHR予算の合計額 4. 日本は令和5年度AMED対象経費の決定額(1,248億円)と科学技術イノベーション創造推進費の一部(175億円)の合計額
Source: Congressional Research Service, Federal Research and Development (R&D) Funding: FY2024, 19 May 2023; UK Research and Innovation, UKRI budget allocations 2022 to 2023, 2023 to 2024 and 2024 to 2025, 21 June 2022; National Institute for Health and Care Research, NIHR Annual Report 2022/23, July 10, 2024; 人民網日本語版、「中国のR&D経費、2019年は2兆2000億元超」、2020年10月27日; Xinhua News、「中国の研究開発費、22年は初めて3兆元突破」、2023年2月27日; 「令和 2 年度 新型コロナウイルス感染症等の新興感染症に対する研究開発についての調査 調査報告書」、2021年3月; 内閣府、令和5年度 医療分野の研究開発関連予算 概算要求のポイント

エコシステム(1/2): エコシステム内でのデータ活用促進や伴走支援の要望が確認された

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

関連する調査結果

3

データ活用に向けた環境整備が遅れている

利用審査の煩雑性

- 国内のバイオバンクの利用に際して、二次利用にIRBの審査が必要なため煩雑。利用申請だけで活用できるUK BioBankなどを優先してしまう (国立大医学部)

海外からの利用制限

- 国内の主要バイオバンクは基本的に国内の研究者・企業に利用を制限しており、海外の研究者や機関に開放されていない

利用上の技術的な課題

- 大きいデータの転送システムがNBDCではなく、数TBレベルで活用をしようとする膨大な時間がかかる (私立大学医学部)

- 学術論文におけるバイオバンクの活用状況を見ると、UK BiobankやChina Kadoorie Biobankの方が我が国のToMMoよりも活用されている
- 上記の背景として、UKやChinaのバイオバンクは利用申請のみで使用可能であること、クラウド上の解析環境が設定されているといった工夫が施されていることが挙げられる

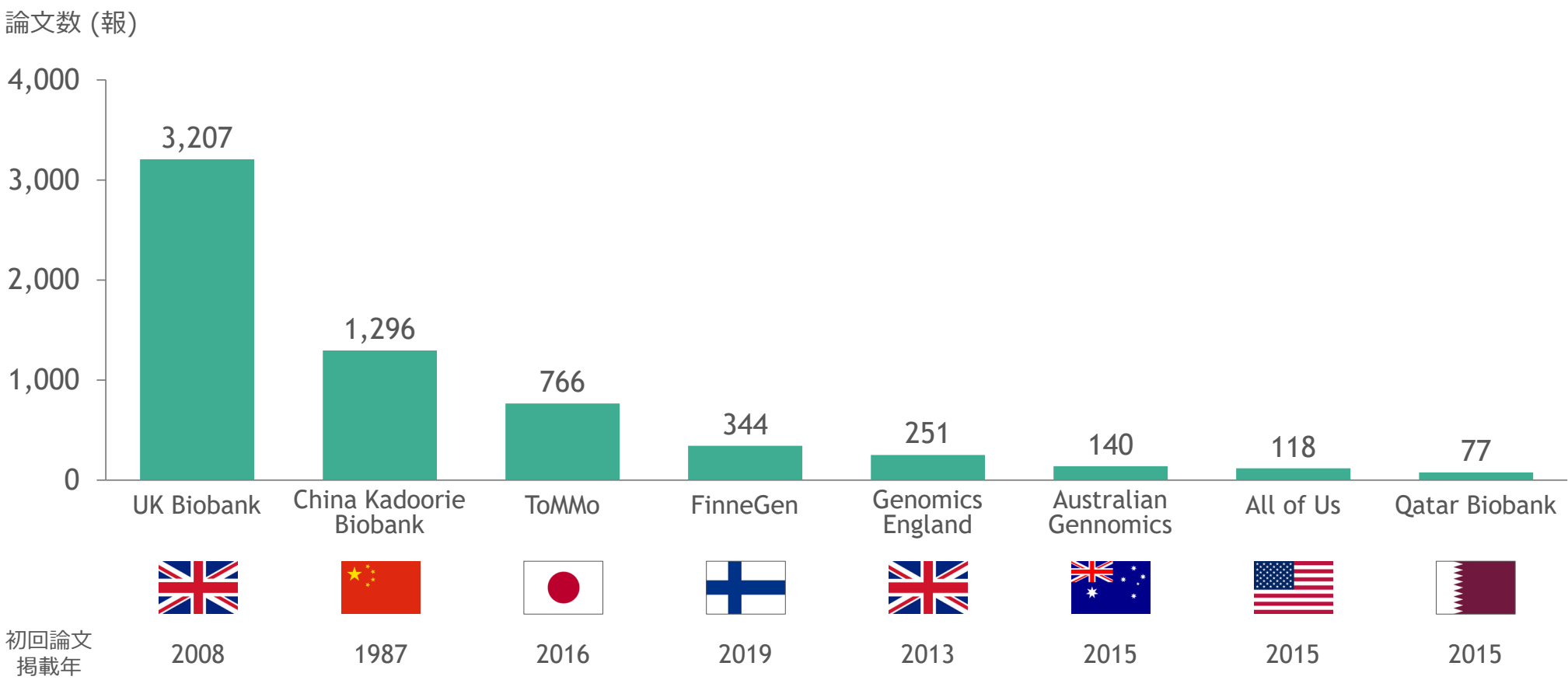
4

最終的な実用化を見据えた、基礎～臨床段階での伴走支援が不十分

- 基礎研究と臨床研究との間の距離が遠く、基礎的なアイデアやシーズが臨床現場で検証され、それをフィードバックする体制が乏しい (私立大学医学部)
- 日本の研究開発面での強みでもあった臨床・基礎医学間の交流が、専門医制度等拡充による負担増などの理由から減少していると考えられる (私立大学医学部)

③ データ活用に向けた環境整備が遅れている

最も利活用が進んでいる東北メディカル・メガバンク機構 (ToMMo) においても、UK Biobankと比較するとバイオバンクを活用した論文数において大きな差がある



Source: 医薬産業政策研究所、バイオバンク（UK Biobank）利用の現状、2023年3月

③ データ活用に向けた環境整備が遅れている

論文での利用が多い諸外国のバイオバンクは、利活用促進に向けた工夫がなされている

バイオバンク活用における一般的な課題		 UK Biobank	 China Kadoorie Biobank
利用審査が煩雑		倫理審査は不要で、 利用申請のみで利用可能	倫理審査は不要で、 利用申請のみで利用可能 2～3か月の期間を要する
海外からのアクセスが制限されている		学術利用、政府活動、慈善活動、商用利用等の目的を問わず 英国外からも広く申請を受付 製薬企業とも連携してオミックスの解析を大規模に実施	学術機関、医療サービスまたは慈善研究機関で査読済みの出版物の実績を持つ研究者が申請可能。 国内の研究者は無料で利用可能で、国外の研究者は利用料を払う必要
研究上の活用に際した仕様上のハードルが存在		大規模データへのアクセスもクラウド上に構築された専用の解析環境から可能となっており、 アクセスが容易	データを利用するサーバが特定のサーバに限定されていない

Source: UK Biobank, China Kadoorie Biobank ウェブサイトよりBCG分析

エコシステム(2/2): 産学マッチングやスタートアップへの投資・買収における課題も確認された



アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)



関連する調査結果

5

産学マッチング/
連携の場が不足

- アカデミアから企業側へアプローチするチャンネルが限られている (国立大学医学部)
- 産業界がアカデミアの技術にアクセスできる機会が限られている。学会活動なども外部への発信は乏しく感じる (業界団体)
- AMEDは資金提供が中心的な役割と理解しつつ、業界の課題である産学マッチングも支援してほしい (私立大学医学部)

—

6

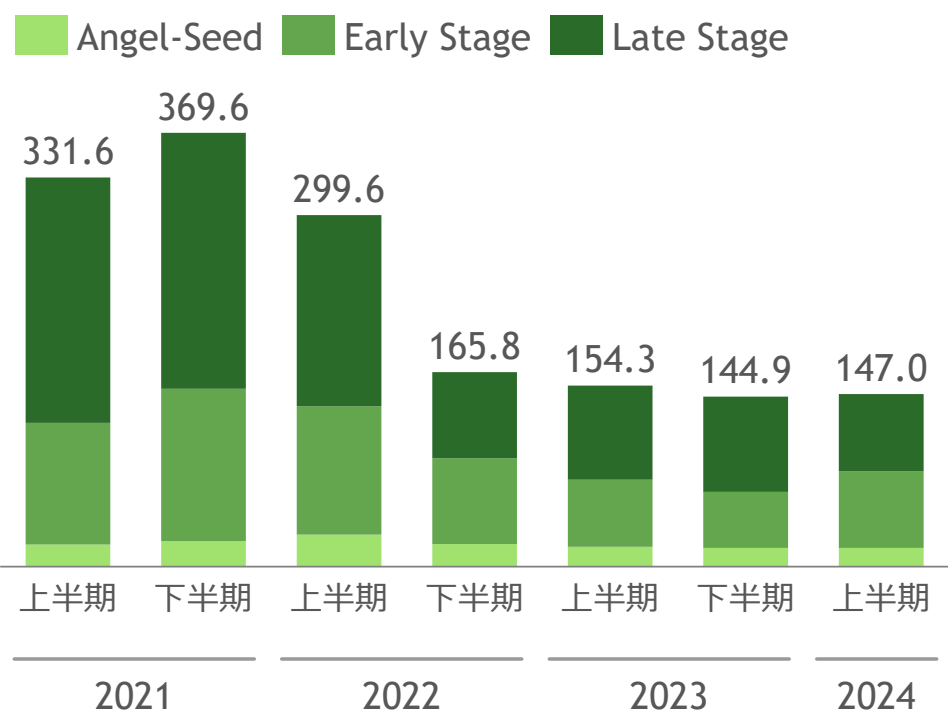
スタートアップに
対する投資/
買収が件数・
規模ともに
諸外国より小さい

- 国内スタートアップのエグジットとして、医薬品メーカー等による買収案件が少なく、IPOをメインとしなければいけない印象 (国立大学医学部)
- 諸外国と比較しても、我が国では民間からのリスクマネーが限られており、資金調達・買収案件の金額規模が小さい (国立大学医学部)
- グローバルではヘルスケア関連スタートアップのエグジットはM&Aの方が多い中、日本では特に創薬分野を中心にIPO比率が高い
- 資金調達額をシリーズ別にみると、シードからミドルまでは日本はグローバル水準の2-4割程度、レイターはGlobalの4%程度と大きな差が存在

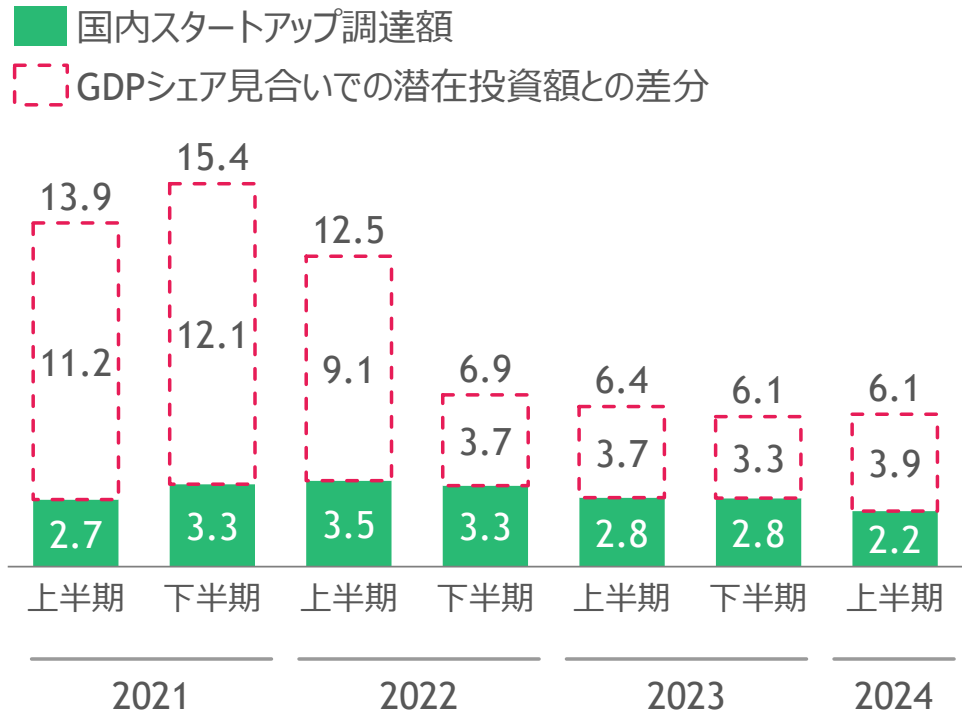
6 スタートアップに対する投資/買収が件数・規模感ともに諸外国より小さい

日本のスタートアップ投資は、我が国のグローバルGDPシェアから本来期待できる規模感より大きく下回っている

Global Startup Funding (\$ B)



日本のスタートアップ投資推移(\$ B)



Note: 日本の世界全体のGDPに対するシェア(4.18%、2022年、World Bank)を基準として比較、国内調達額は2024年8月のFX rateである\$1=145.1円を用いて換算
Source: Crunchbase "The Q2 State Of Startups" (2024.7), スピーダ スタートアップ情報リサーチ「2024上半期 Japan Startup Finance」(2024.7)

人材 (1/2): 生成AIへの期待が強い中、人的な律速からその推進が難しい現状が明らかに

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

関連する調査結果

7

医療分野に
AI人材が少なく、
データ/AIの活用が
十分に進んでいない

- 生成AI活用のために、データ管理能力や解析リテラシーの向上、およびITエンジニアやデータアナリストの育成環境が必要 (ヘルスケア企業)
- 現在の医療従事者に、デジタル技術を駆使できる人材が極めて少ない。医学教育における情報教育が不十分であり、対策は急務 (国立大学医学部)
- AI活用を進めるためにAI・データ人材を医学部に取り込む必要があるものの、現在はそのようなポジションが少ない、あるいは時間的となっているように感じる (私立大学医学部)

—

8

研究事務や診療
への対応などで、
研究者が研究
時間を十分
確保できない

- 医療サービスの観点から、診療時間の確保が最優先されている現状である。その結果、教育・研究の時間が減り、これらの質が低下する (私立大学医学部)
- 研究費を獲得したとして、その管理に関わる事務補助者、MDとともに研究を進めるPhD、技術補佐員が少ない (国立大学医学部)

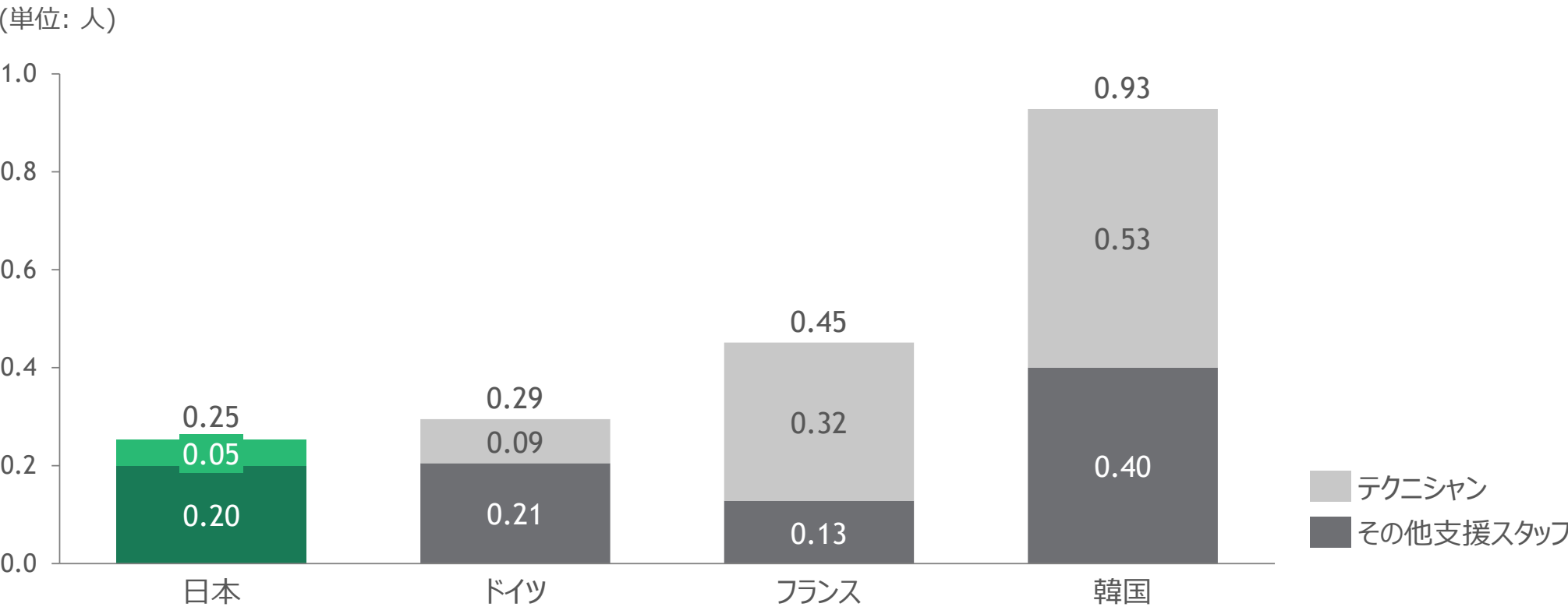
- 我が国では研究者1人あたりの研究支援者¹数が0.25人であり、フランスにおける0.45人、韓国における0.93人と比較して低い水準にある

1: 研究支援者には、研究補助者、技能者(検査や測定、試験用材料の作成加工などに従事する技術者)、研究事務が含まれる

8 研究事務や診療への対応などで、研究者が研究時間を十分確保できない

我が国では大学における研究支援者が少なく、特に技能職であるテクニシャン数が諸外国と大きく差がある

各国の大学における研究者1人あたり研究支援者数の比較



Note: 日本は2023年、ドイツは2021年、フランスは2018年、韓国は2022年のデータを使用
Source: 文部科学省 科学技術・学術政策研究所、科学技術指標2024、調査資料-341、2024年8月

人材 (2/2): 研究に専念するためのキャリア形成の懸念を取り除くことも指摘されている

9

給与水準やキャリアの不安定さから、研究職を志すことが難しくなっている

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

- 医学科卒業生の半分以上が専門医は欲しいが学位はいらないと考えており、来年からの働き方改革が始まるとさらに研究をしようとする若手医師が減る (国立大学医学部)
- 一般的に、研究を行う大学の医師より、研究を行わない臨床医のほうが高い給料を得られるため、優秀な人材が研究開発を行わない (国立大学医学部)
- 期限付きのポジションが多く、安定して長期にわたり研究を実施することが難しい (国立大学医学部)

関連する調査結果

—

その他 (1/2): AMED事業の進め方に対する見直しの声大きい

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

関連する調査結果

10
現状の統合
プロジェクトや
事業の進め方で
新たなモダリティ
研究の支援が難しい

- 医薬品と医療機器のコンビネーションなど、技術やモダリティを跨ぐものも出てきている。それらも支援が可能なようにプロジェクトの枠組みや柔軟性を持つべき (私立大学医学部)
- AMED事業の審査員について、必ずしも先端技術に明るい専門家が採用されていないように感じられる。若い研究者を登用するなど、テーマによっては思い切った対応も必要ではないか (国立大学医学部)
- AMED事業ではマイルストーンに対する進捗度のチェックが厳しく、研究の発想を柔軟に広げることが難しい (私立大学医学部)

—

11
臨床研究の倫理
審査が煩雑であり、
スピード/効率性
の改善が難しい

- 倫理審査が複雑かつ時間を要するため、国際的な研究参加と国際協力事業の遅れにつながっている (私立大学医学部)
- 医療機関の数だけIRBを活用せざるを得ない状況のためコストや時間がかかる (業界団体)

—

その他 (2/2): 革新的な技術に対する薬価上の評価も求められている

12

イノベーションに
対して適切な
薬価上の評価が
行われていない

アンケート/ヒアリングでの指摘事項 (一部抜粋)

- 医薬品価格が薬価改定のたびに下がることにより、グローバル企業の日本での開発が阻害されている (国立大学医学部)
- 革新的新薬が薬価上で適切に評価されていないために、研究自体が進んでいない (医薬品メーカー)

関連する調査結果

—



bcg.com