

# 創薬力向上のための官民協議会 提出資料

全国がん患者団体連合会(全がん連)

理事長 天野 慎介




## 日本の創薬力を上げる：国際的な創薬エコシステムへの参入



日本が国際的な  
創薬エコシステムに参入







### 1) 日本のスタートアップ促進

- 海外のベンチャーキャピタルを誘致  
薬剤GMP製造から第1相までは  
行える50億円以上の資金調達  50億円+
- 海外のCDMOの国内誘致 
- 創薬に対する専門家のハンズオン支援  
(必要なら海外の) 



### 2) 海外のスタートアップの呼び込み

- First-in-human試験が行える施設 
- 国際的スケールの臨床試験プラットフォーム 
- PMDA・厚労省と連携した  
インセンティブ制度 
- 海外スタートアップへのアウトリーチ活動 

## 日本におけるドラッグラグ・ドラッグロスの課題と解消に向けた施策

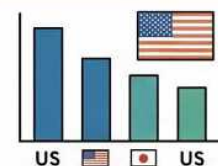
### 1) 日本におけるドラッグラグ・ドラッグロスの課題



人口減少社会



英語が公用語でなく  
日本語での申請が必要



新薬の薬価が米国の4割程度に  
抑えられている



日本市場の魅力が低下し、  
欧米と同時あるいは早期に  
日本で開発・申請・販売を行う  
製薬企業が減少する可能性



### 2) 日本におけるドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けて

● Single Patient IND (コンパッションエート・ユース) 制度の導入



● 超希少疾患における「N-of-1治験」の実施



● PMDAと産業界との人事交流の活発化



● AMEDにおける臨床研究に関する予算の増額



● 臨床試験に関する患者参画 (PPI) と啓発の推進



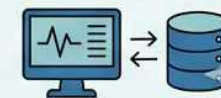
● 超高額医薬品における選定療養の考慮



● 体外診断薬やCGP (遺伝子パネル検査) 承認の遅れ



● 製造販売後調査に関する体制の充実



## 日本発創薬：免疫療法の圧倒的な強み

「アクセル」と「ブレーキ」の双方向制御概念の確立



1. 本庶 佑 教授 (京都大学)  
免疫の「ブレーキ」を外してがんを叩く

2018年 ノーベル生理学・医学賞受賞

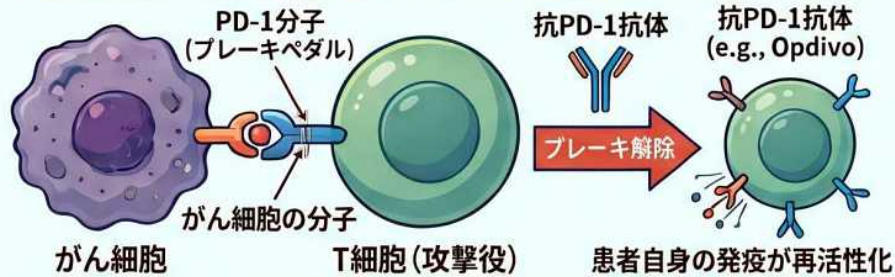


2. 坂口 志文 教授 (大阪大学)  
免疫の「暴走と抑制」を司る司令塔

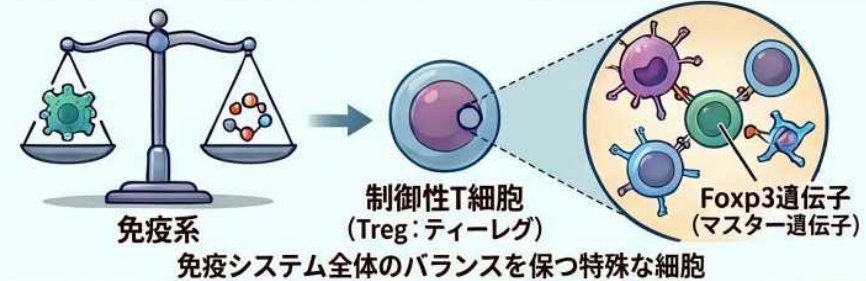
2025年 ノーベル生理学・医学賞受賞決定



### 研究成果：PD-1の発見と「ブレーキ解除」



### 研究成果：制御性T細胞(Treg)の発見



### 創薬への結実：世界初 抗PD-1抗体「オプジーボ」



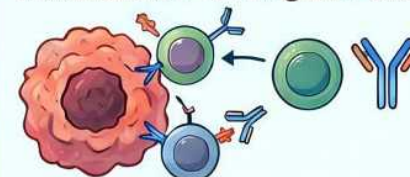
オプジーボ  
(ニボルマブ)



全世界で標準治療薬

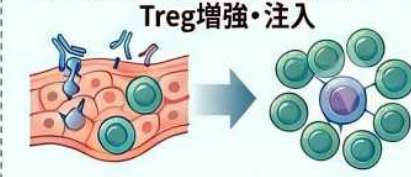
### 創薬への結実：「両刃の剣」Tregの制御技術

がん治療において：Treg増強・弱体化



免疫抑制を打破し治療効果向上

自己免疫疾患・移植医療において：  
Treg増強・注入



過剰な免疫反応を軽減・制御する

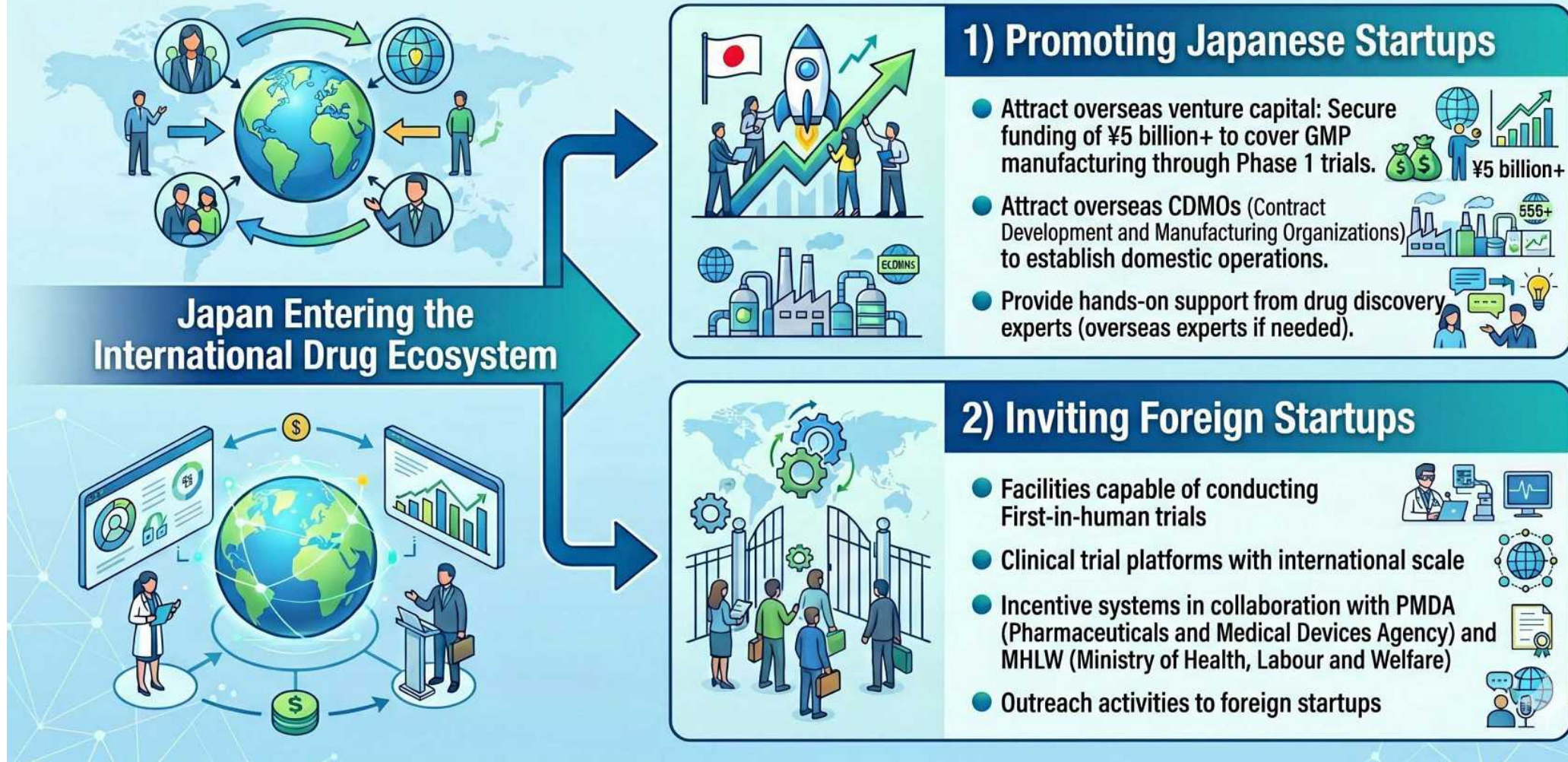
# Public-Private Council for Enhancing Drug Discovery Capability

Japan Federation of Cancer Patient Groups

Chairperson of the Board

Shinsuke Amano

## Enhancing Japan's Drug Discovery Capability: Entering the International Drug Discovery Ecosystem



## Challenges and Measures for Resolving Drug Lag and Drug Loss in Japan

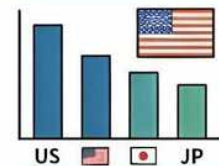
### 1) Challenges of Drug Lag and Drug Loss in Japan



Depopulating Society



English is Not an Official Language, requiring Applications in Japanese



New Drug Prices are Suppressed to about 40% of the US

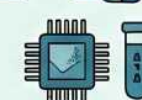


Japanese Market Attractiveness Declines, potentially leading to fewer Pharmaceutical Companies developing, applying, and selling in Japan simultaneously or early with the US/Europe



### 2) Towards Resolving Drug Lag and Drug Loss in Japan

- Introduction of Single Patient IND (Compassionate Use) System
- Implementation of 'N-of-1 Trials' for Ultra-rare Diseases
- Vitalization of Personnel Exchange between PMDA and Industry
- Budget Increase for Clinical Research at AMED
- Promotion of Patient and Public Involvement (PPI) and Awareness regarding Clinical Trials
- Consideration of Selection Criteria for Ultra-high Cost Medicines
- Approval Delay for In Vitro Diagnostics and CGP (Gene Panel Testing)
- Improvement of Systems for Post-marketing Surveillance



# Japan-Originated Drug Discovery : Immunotherapy's Overwhelming Strength

## Japan-Originated Drug Discovery: Immunotherapy's Overwhelming Strength

Establishment of the Concept of Bidirectional Control for "Accelerator" and "Brake"



1. Professor Tasuku Honjo (Kyoto University)  
Striking Cancer by Releasing Immune "Brakes"

2018 Nobel Prize in Physiology or Medicine Laureate

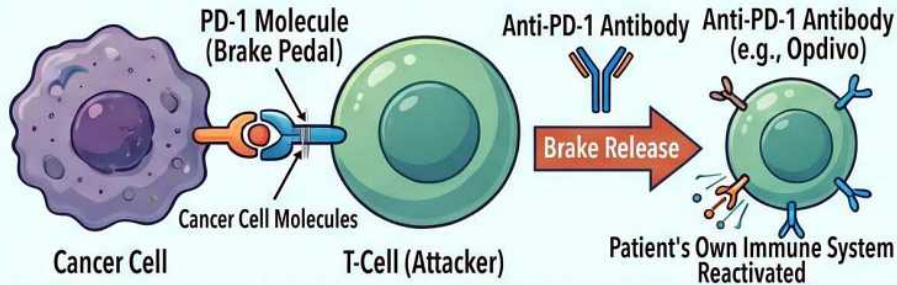


2. Professor Shimon Sakaguchi (Osaka University)  
Commander Managing "Runway" and  
"Suppression" of Immunity

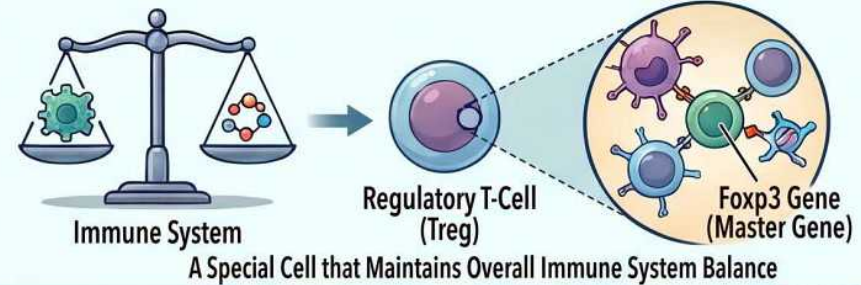
2025 Nobel Prize in Physiology or Medicine Laureate (Decision)



### Research Result: PD-1 Discovery and "Brake Release"



### Research Result: Regulatory T-Cell (Treg) Discovery



### Translational Result: World's First Anti-PD-1 Antibody "Opdivo"



### Translational Result: Treg Control Technology - "Double-Edged Sword"

