

バイオ創薬・製品開発の課題

自治医科大学 永井良三

映画化された
医師主導治験

奇跡の子どもたち



AADC欠損症に対する遺伝子治療で画期的な効果（自治医科大学）



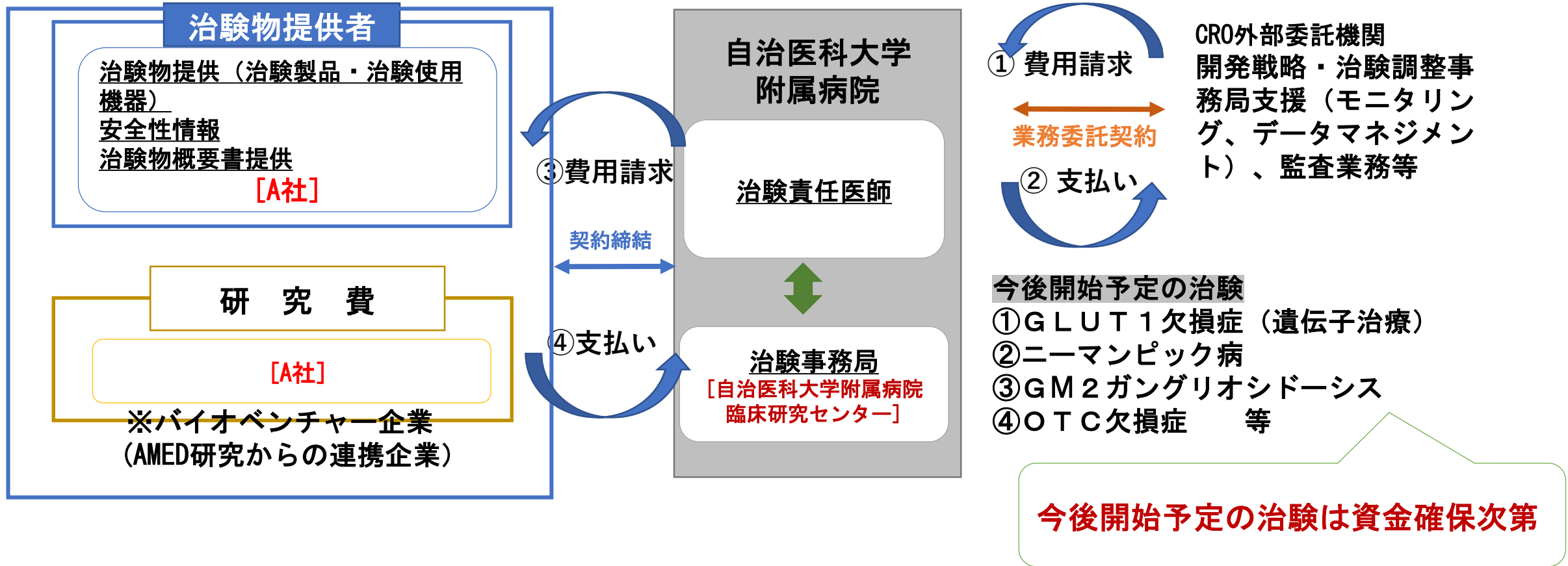
<https://www.amazon.co.jp/%E5%A5%87%E8%B7%A1%E3%81%AE%E5%AD%90%E3%81%A9%E3%82%82%E3%81%9F%E3%81%A1-%E6%9D%BE%E6%9E%97%E4%BD%B3%E6%B1%B0/dp/B0834ZN75S>

- ・本遺伝子治療は、患者数の多いパーキンソン病にも、有効性が期待
- ・資金が続かず、米国製薬企業に売却

①AADC欠損症に対するGT0002Xの第I／II相臨床試験

②パーキンソン病に対するGT0002Xの第I／II相臨床試験

③孤発性筋萎縮性側索硬化症（孤発性ALS）に対するGT0001Xの第I／II相臨床試験



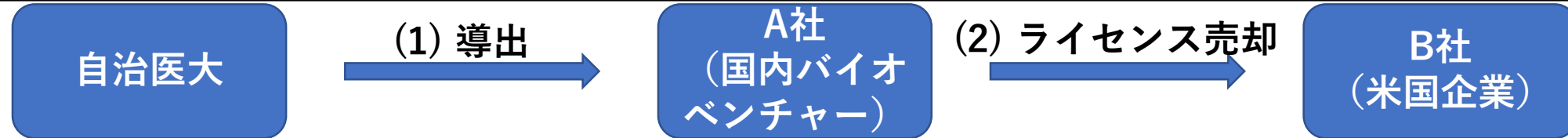
医師主導治験継続のための問題点

- ・ 治験実施のために必要な経費の確保（研究費が少ないため、人材確保や品質管理に費用が回らない。（承認申請まで）
- ・ 実施体制の不備（企画マネジメント担当者、ARO機能）
- ・ CRC等の負担増加、人材の確保

創薬シーズの海外流出事例に見る問題点

【事例】

自治医科大学発の画期的で有望な遺伝子治療創薬シーズ（①AADC欠損症、②パーキンソン病）の開発を進めていた、バイオベンチャーA社が資金難に陥り、これら開発品のライセンスを米国B社に売却した。
結果として、本学にて実施中の医師主導治験の中止を余儀なくされ、今後は日本国内の開発を米国企業が進めることとなった。



(1) 導出時の問題点

- ・ 大手製薬が創薬シーズの導出先にならない

(考えられる理由)

- ・ 新規モダリティ（単回投与である、経験がない、等）
- ・ 希少疾患
- ・ 開発ステージが早い

(2) ベンチャーへの導出後の問題点

- ・ 開発資金不足（特に製造開発に多額の費用が必要）

(考えられる理由)

- ・ VCの規模が不足（特にミドルステージ以降で顕在）
- ・ AMED研究費だけでは不足

バイオベンチャー
に依存せざるを得
ない

資金調達状況に
より、ライセンス
売却のリスク上昇

創薬シーズの海外流出を
防ぐための提案内容：

公的機関（AMED等）に
よる思い切ったリスク・
テイク

具体的には、

1. アカデミア主導型シー
ズ開発ファンドの創設
2. ミドル・ステージ以降
のベンチャー支援強化

バイオベンチャーの資金調達

【バイオベンチャーの一般的な事業化の流れと現状】

医薬品等の開発期間が5 - 8年と長く、事業の黒字化までの必要資金総額も50 - 80億円となる。

そのため、まずバイオベンチャーは株式上場での大型資金調達（50 - 100億円）を行い、その資金で事業の黒字化を目指す。（ただ、開発が想定よりも長期化し、追加の資金調達ができず苦しむ上場企業が多い。）

国内では以下の市場構造から、**資金欲旺盛なミドル・ステージ以降のリスク・マネー供給量が大きく不足**する。

① VCのファンド規模とスタートアップ偏重傾向：米国VCのファンド規模は数千億円に対して、国内VCは数十億円から100億円程度。1社あたりへの投資額が小さく、結果としてスタートアップに偏重した投資姿勢となる。

② 国内クロス・オーバー・ファンドの不在：上場前から上場後まで一貫してリスク・マネー供給を担うクロス・オーバー・ファンドが米国では多く存在するが、国内には無い。

	スタートアップ/ アーリー・ステージ	ミドル/ レイター・ステージ	上場後
時期	創業以降、3～5年程度	創業後5年以降 上場前	上場後
ステージの目標	治験開始を目指す	導出又は上場による、大型資金調達	薬事承認取得、事業の黒字化
必要な資金調達額	20億円程度	30-50億円	30-50億円
主な資金使途	製造開発・非臨床開発	製造開発・臨床開発	臨床開発
必要な支援	ハンズオンによる助言・支援	大型資金調達	

国内優良シーズを国内での創薬までつなげるには、**ミドル・ステージ以降の「死の谷リスク」**に対する支援強化が不可欠である。

アカデミア主導型のシーズ開発ファンドの創設

【現状の公的機関による支援状況】

「死の谷」を渡るための公的機関の支援として、AMED等による研究開発資金の拠出があるが、

- 平均的な品目当たりの開発必要資金総額（20-30億円）に対し、AMED等からの研究開発資金額は最大5億円程度の支援にとどまる（協力企業の負担額が大きく、特にバイオベンチャーにとっては厳しい）
- 応募段階からの協力企業の関与を必要とする資金タイプが多い

従って、アカデミアの創薬シーズの海外流出回避には、十分であるとは考え難い。

【ミドル・ステージ以降の「死の谷リスク」に対する改革提案①】

1. バイオベンチャーに依存せず、アカデミアが臨床開発初期までを主導するファンドの創設
（開発品目当たり上限30億円とし、必ずしも産学連携を前提とせず、研究開発が成功した場合、将来の導出による獲得資金の一部をファンドに還元する等）
2. 公的機関による（国内企業に限定した）導出マッチング支援

ミドル・ステージ以降のベンチャー支援強化

【現状の公的機関による支援状況】

特にスタートアップに対しては、VCの投資意欲も高く、また経産省主導のエコシステムが軌道に乗り、支援が強化されている一方、資金意欲旺盛なミドル・ステージ以降のベンチャー支援制度が望まれる。

また、スタートアップ/アーリー・ステージを主体とした支援のみでは、3,500億円規模の予算を有効に消化するのは難しい。

【ミドル・ステージ以降の「死の谷リスク」に対する改革提案②】

ミドル・ステージ以降のバイオベンチャーへ拡充した「新エコシステム」

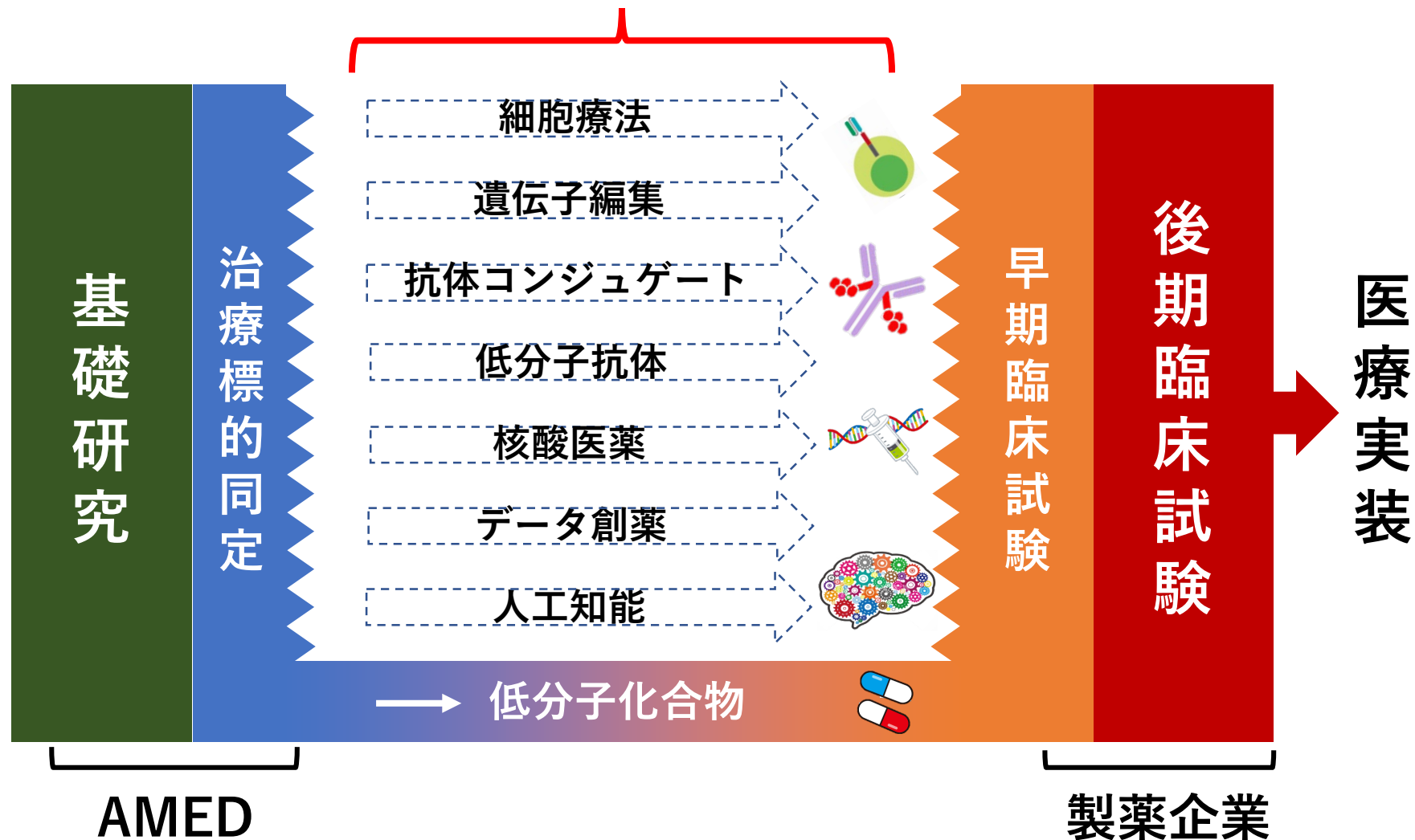
具体的には、

- 「認定VC」に求める要件タイプの追加：
ミドル・ステージ以降の支援が可能なVC要件の追加設定
- ミドル・ステージ以降の支援用の「QUOTA」の設定：
例えば、件数QUOTAとして全体の20%程度、金額QUOTAとして全体の50%程度を
ミドル・ステージ以降の支援を行うような誘導

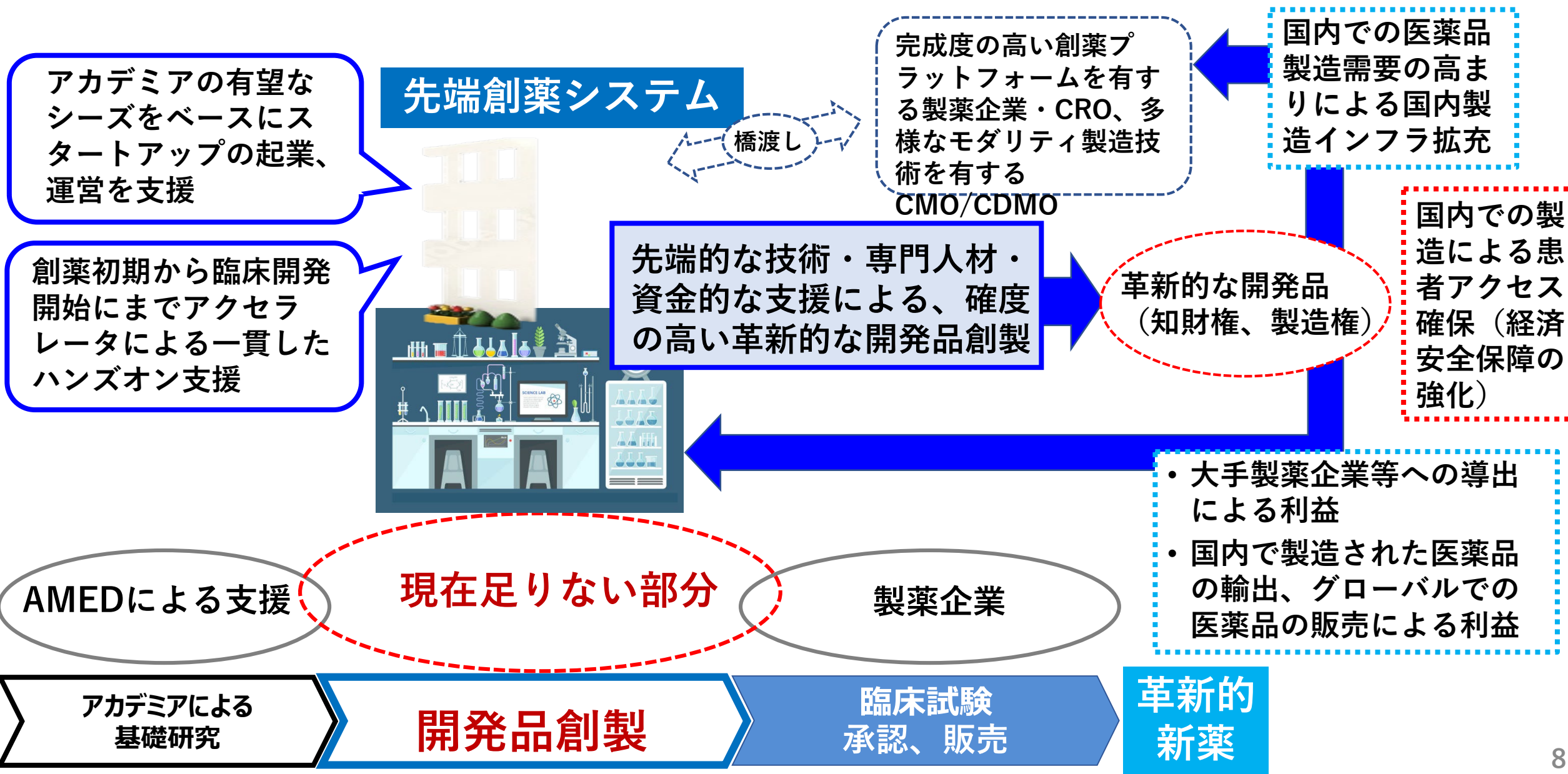
新時代の創薬に取り残される日本

国立がん研究センター研究所 間野博行所長

新しい種類の治療薬（モダリティ） ・ データ駆動型
治療薬を開発するシステム ・ 人材 ・ 投資の欠如



先端創薬エコシステムの活性化



まとめ：日本に創薬エコシステムを

- AMEDの支援により、アカデミアで有望な創薬標的が次々と見出されているが、日本の製薬企業の強みである低分子創薬プラットフォームだけでは、質の高い革新的な医薬品（抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療など）の創製が困難になっている。〈新たに生じた死の谷〉
- 次々と生み出される創薬技術から創薬プラットフォームを新たに開発・構築し、革新的な医薬品創製に利用できるレベルに高めるには、莫大な費用、時間、労力を伴うため、単一の製薬企業にとって簡単ではない。
- リスクを取って有望な創薬標的と革新的な創薬技術の組み合わせにチャレンジできる、アカデミア発のスタートアップの存在が極めて重要である。
- アカデミアの研究成果からスタートアップで医薬品開発候補品に育て（インキュベーション）、製薬企業がグローバルでの社会実装につなげる創薬エコシステム構築が世界の潮流であり、日本においても創薬エコシステム構築が急務である。
- 日本で創薬エコシステムが構築できず、創薬力の低下が続くと、創薬エコシステムが確立している欧米に国内大手製薬企業が研究機能に移転し、製薬産業の空洞化が加速する。さらに、独創的なアイデアを有するアカデミア人材が欧米に移って起業し、人材・頭脳の海外流出も加速、ひいては国内科学技術力の低下を引き起こす。
- 日本で創薬エコシステムを構築するためにも、新たな仕組みが必要。