

医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の 産業化に向けた課題及び課題解決に 必要な取組みに関する調査

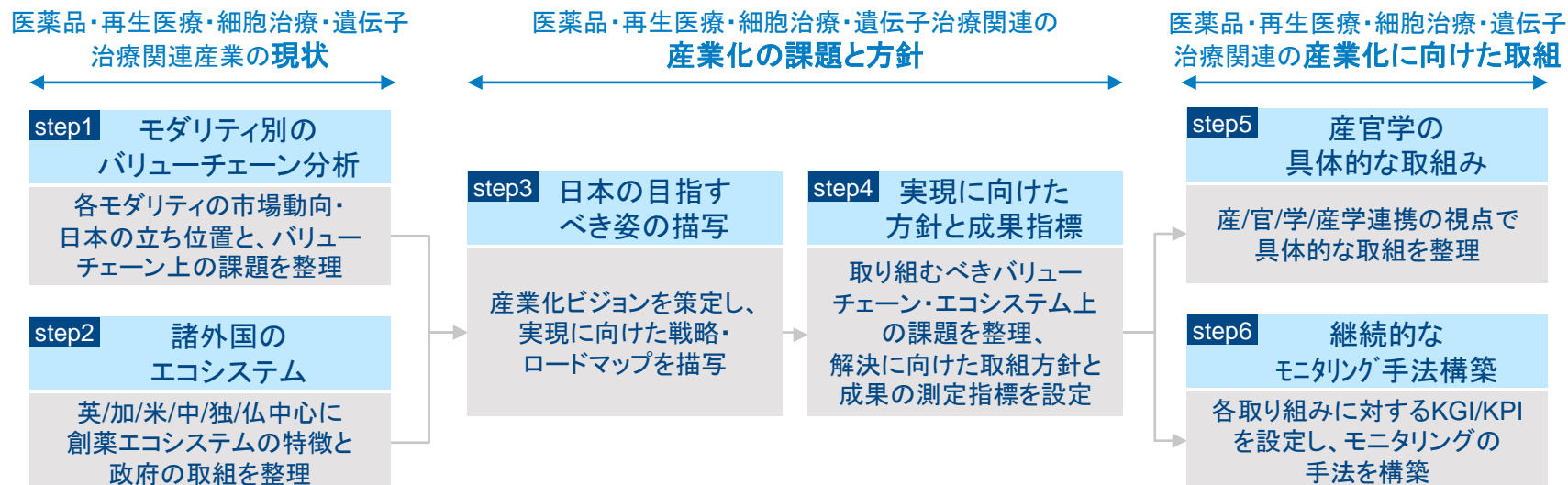
成果物(Ⅰ)概要版 (b)医薬品

2021年3月24日

医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査

目的 医療分野の研究開発の成果としての医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化が進展し、同分野の国際競争力が強化されるために必要な取組を明らかにする

検討の概要



本報告書の章の対応

1章	調査概要	Step3
2章	モダリティ別の市場動向と取り組むべきバリューチェーン上の課題	Step1, 3
3章	諸外国のエコシステム分析	Step2
4章	日本のエコシステムにおける課題と解決方向性	Step4
5章	課題解決に向けた具体的取組み案とKPI	Step5, 6

検討モダリティ全体像



再生・細胞治療、遺伝子治療、核酸医薬は市場規模は現状小さいが高成長。ペプチド、高分子、低分子医薬は現状一定の市場があり中程度～堅調に成長。

モダリティ

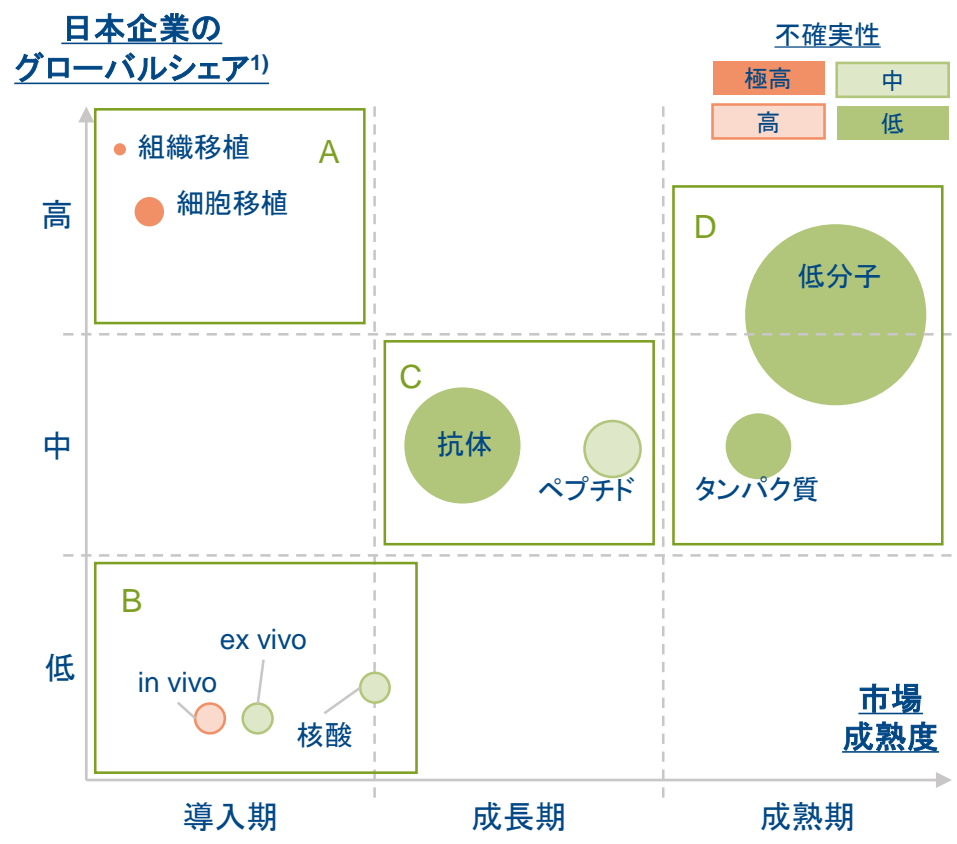
各モダリティの市場動向比較(グローバル)

モダリティ		市場規模 ²⁾ (2020)	成長率 ³⁾ (20-30)	市場規模 ²⁾ (2030)	製品例
再生医療	スキャフォールド治療 ¹⁾	4億円	高 (21%)	29億円	Orthocell (欧州)
	組織移植	600億円	低 (4%)	900億円	ハートシート、ジャック、ジェイス
細胞治療	細胞移植	2,200億円	高 (27%)	2.5兆円	テムセル、ステミラック注
	ex vivo 遺伝子治療	1,400億円	高 (31%)	2.0兆円	キムリア
遺伝子治療	in vivo 遺伝子治療	1,700億円 含ウイルス治療: 2,100億円	高(32%) 含ウイルス治療: 30%	2.6兆円 含ウイルス治療: 2.9兆円	ゾルゲンスマ
中分子医薬	核酸医薬	4,500億円	高 (17%)	2.1兆円	スピンラザ
	ペプチド医薬	3.2兆円	中 (8% ³⁾)	4.7兆円 (2025)	テリパラチド、特殊環状ペプチド
高分子医薬	抗体医薬品	16兆円	中 (8% ³⁾)	23兆円 (2025)	オプジーボ、アクテムラ
	タンパク質医薬	6.4兆円	低 (4%)	10兆円	ネスプ、エリスロポエチン
低分子医薬	低分子医薬品	48兆円 (2016年)	低 (微増)	55兆円程度	各種抗がん剤(ドセタキセル等)

出所: ADL独自分析 (AMED委託調査にて実施)、BBブリッジレポート、シードプランニングレポート、日経バイオテクパイプラインデータベース、各社プレスリリース等 (詳細はAppendixの各モダリティの市場分析を参照)
 1. 合成物質等を用いた医薬品として開発されているスキャフォールドを試算。脱細胞組織を用いたスキャフォールドは含まない 2. いずれも予測値 3. 20-25年の成長率を記載

各モダリティにおける現在の日本の立ち位置から考えて、取るべき方針を以下の4つと想定。

各モダリティ¹⁾における現在の日本の立ち位置
 (規模:円サイズ)



ポートフォリオから想定される方針

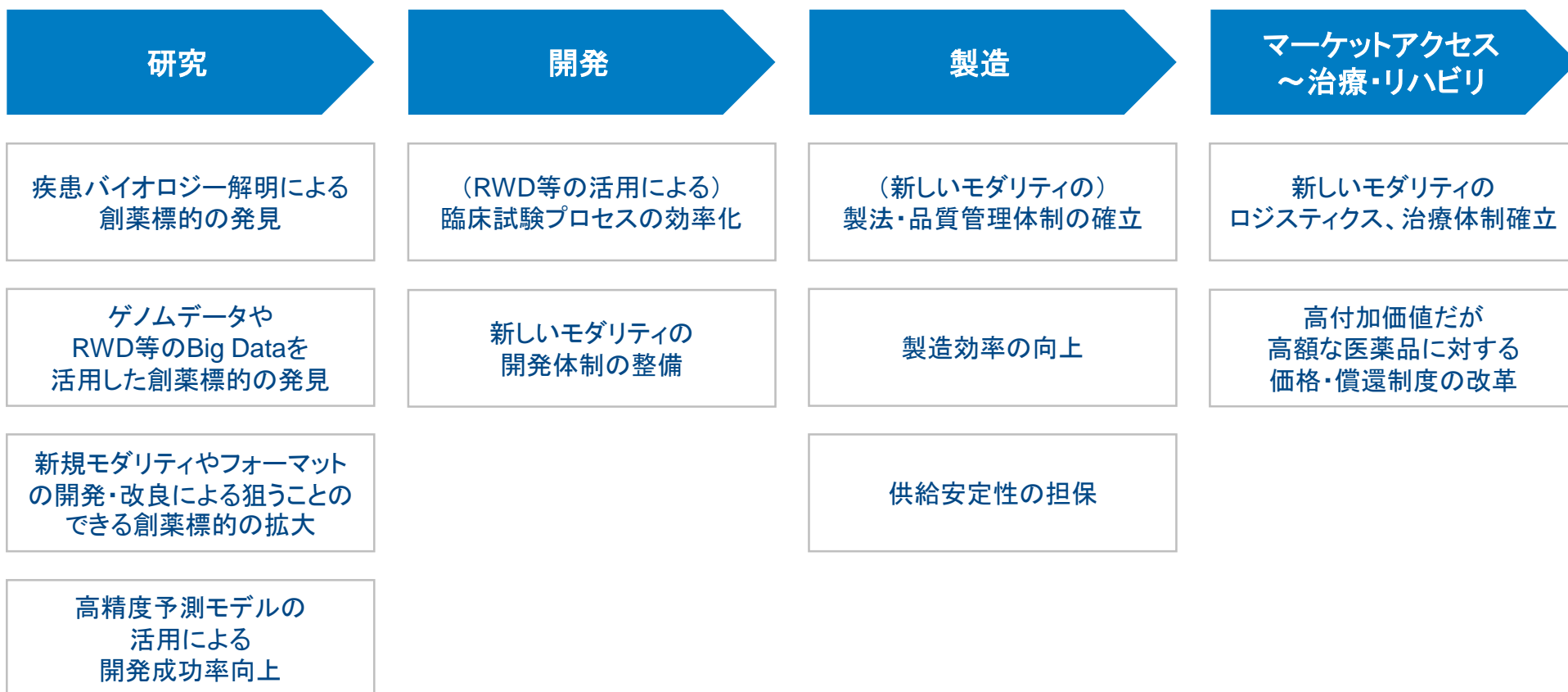
- A**
 - 市場が立ち上がりさえすれば、日本が高いプレゼンスを築きうる領域
 - 一方で市場形成の不確実性が高い領域である為、現在充実しつつあるシーズ創出だけではなく、製造等の市場形成に向けたボトルネック解消に注力すべき
- B**
 - 現状は上市品、パイプライン数共に、欧米諸国と比較すると劣後している状態である
 - 世界最高水準の医療提供&産業化に向けては、まずは競争力の高いシーズを集める、生み出す必要がある
- C**
 - 成長期市場で今後医薬品市場の中でも存在感が大きくなりうる領域だが、シェアは中庸
 - マーケットシェア拡大に向けて、標的拡大・適応拡大と、効率化・低コスト化が重要
- D**
 - 成熟期(~に差し掛かっている)市場であり日本には一定のプレゼンスあり
 - マーケットシェアの維持に向けて、標的拡大・適応拡大と、効率化・低コスト化が重要

エコシステムの創出により実現を目指す

出所:アーサー・ディ・リトル分析
 ※スクャフォールド治療は市場規模僅少であるため除外 1)10%以上=高、5~10%程度=中、5%未満=低

医薬品開発のバリューチェーン上には以下のような課題が存在。

医薬品の領域全体における主なバリューチェーン上の課題



前述の課題につき、各モダリティでの課題を抽出すると以下。

目指すべき姿実現に向けた課題			A		B		C		D	
			組織移植	細胞移植	ex vivo 遺伝子	in vivo 遺伝子	核酸	ペプチド	抗体	タンパク
①	既存治療法よりもシャープな有効性を示す治療法の確立	研究	✓	✓						
②	安定した細胞ソース確保	製造	✓	✓	✓					
③	スケールアップ困難	製造	✓	✓	✓	✓				
④	製造コストが高額	製造	✓	✓	✓	✓				
⑤	品質保証体制確立	製造	✓	✓	✓	✓				
⑥	品質を一定に担保可能な輸送・保存体制の確立	ロジ	✓	✓	✓	✓				
⑦	新たな疾患原因遺伝子の解明	研究				✓	✓			
⑧	固形がん等の他の疾患での有効性確立	研究			✓					
⑨	長期の安全性・有効性の確立	研究				✓				
⑩	体内の任意の臓器への送達実現	研究				✓	✓			
⑪	標的枯渇への対応(新規標的発見、次世代フォーマット開発)	研究						✓	✓	✓

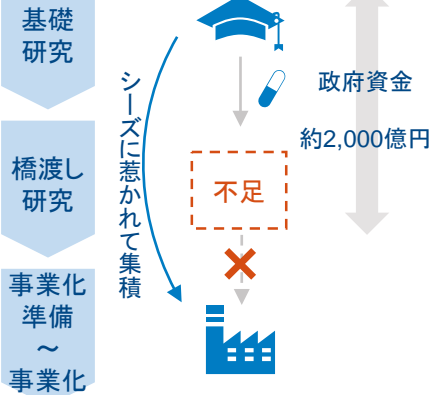


英国では、橋渡し研究推進に必要な機能を、民業圧迫にならない範囲で政府が補完。 NHSの基盤を活用した臨床試験効率化にも取り組んでいる。

エコシステム構築における政府の背景思想

アカデミアから創出される新規医薬品シーズの効率的な産業化により、国民の健康増進と市場規模・雇用創出を追求

背景・課題



- アカデミアとそのシーズに惹かれ集まる製薬企業・周辺企業は一定充実
 - ケンブリッジ・オックスフォード等、世界有数の大学が存在
- 一方、橋渡し研究部分については、民間組織の機能のみでは不足。**アカデミアシーズが産業化につながりにくい**という課題があった

政府の取り組み

方針

- **政府自身が、不足部分に対して支援**を実施
 - 民間は短中期的なリターン最大化追求のため、必ずしも産業化には向かわない可能性
 - 政府が取り組むことで産業化を追求可能に
- 橋渡し研究部分を中心に、民間で不足する機能を政府が提供
 - 基礎研究資金供給
 - リスクマネー供給
 - 橋渡し研究部分の民間不足機能補完（製造・開発・人材教育等）
 - NHSによる臨床試験効率化

取り組みの例

名称	目的・具体的内容	ポイント
CGT Catapult	<p>細胞・遺伝子治療の産業化に向けた支援</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 民間企業へのコンサルティング <ul style="list-style-type: none"> - 製造プロセス開発 - 薬事・償還戦略 - 臨床試験デザイン ■ 人材育成プログラム <p>組織のケイパビリティを高める活動</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ in-house開発 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 産業界出身者を巻き込むことで、活動の実効性を担保
NHSによる臨床試験効率化	<p>医薬品産業活性化のため、臨床試験を誘致</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ NHS傘下の研究機関NIHRに臨床試験ネットワークを有する(2008年～) <ul style="list-style-type: none"> - 臨床試験の患者集め等を容易化 ■ 更なる効率化に向け、現在も改善活動中 <ul style="list-style-type: none"> - 後期臨床試験向けの患者リクルーティングセンター設置(全国5か所) - 患者自身の治験被験者登録可能化 	<ul style="list-style-type: none"> ■ NHSのミッション(良い医療を国民へ送達)にも合う取り組みとして位置づけ資源を投入

NHS = National Health Service, CGT Catapult = Cell and Gene Therapy Catapult, NIHR = National Institute for Health Research

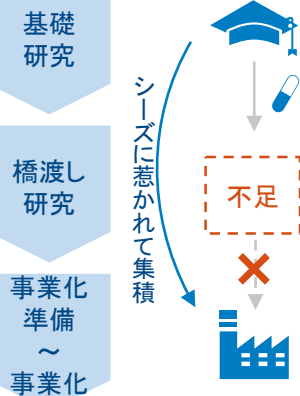


カナダでは、橋渡し研究推進に必要な機能を政府が補完。VCや製造機能など、助言だけでなく具体的機能にまで踏み込んでいる点が特徴。

エコシステム構築における政府の背景思想

アカデミアから創出される新規シーズにリスクマネーを注入し産業化することにより、国民の健康と市場規模・雇用創出を実現

背景・課題



- ライフサイエンス領域のアカデミアの競争力は高く、周辺に強いバイオクラスターが存在(トロント等)
- 一方、橋渡し研究の部分については、民間組織の機能が不足
 - 特に資金が不足
 - 隣国である米国に、シーズ・人材とも流出の傾向

政府の取り組み

方針

- **政府自身が、不足部分に対して支援を実施**
 - 特にVC資金が圧倒的に不足
- 橋渡し研究部分を中心に、民間で不足する機能を政府が提供
 - 基礎研究資金供給
 - リスクマネー供給(特にVC資金)
 - 橋渡し研究部分の民間不足機能補完(製造・開発・人材教育等)
 - CCTCCによる臨床試験環境の更なる整備

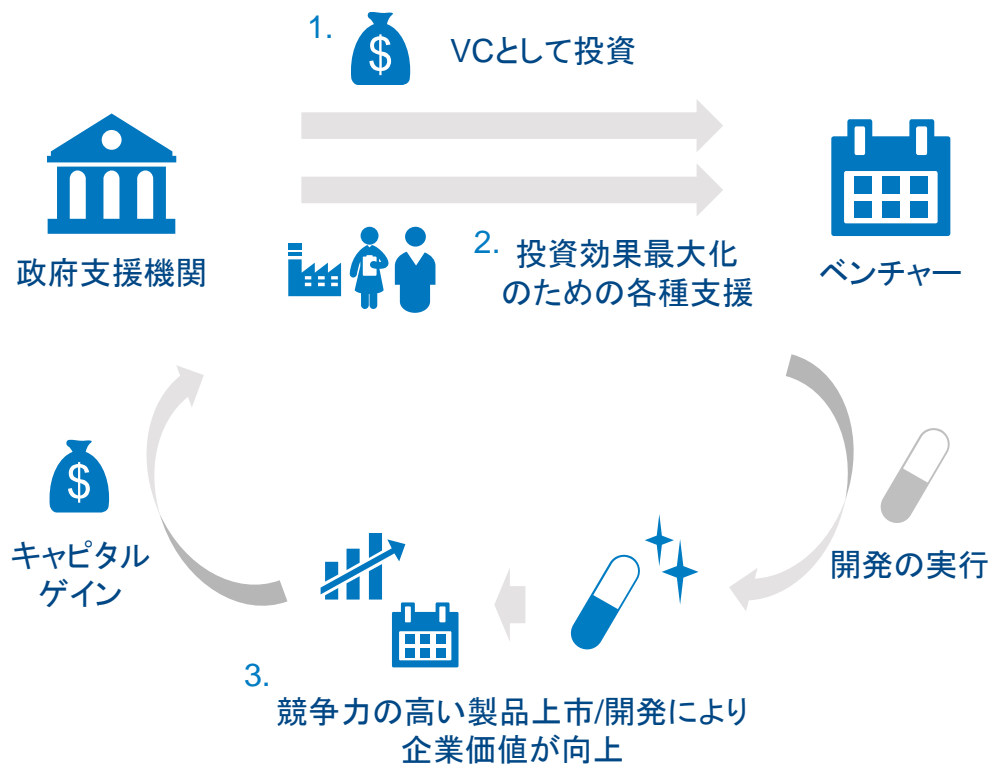
取り組みの例

名称	目的・具体的内容	ポイント
VCへの出資・官製VCの設立	(米国に比べ)不足するVC資金を政府が投下 <ul style="list-style-type: none"> ■ VCに対して政府資金を拠出 <ul style="list-style-type: none"> - 民間資金とのマッチング方式で政府資金を拠出し、民間資金を呼び込み ■ 政府組織・官民組織自身がVCとして活動し、有望企業に対して直接投資 <ul style="list-style-type: none"> - KPIとして、投資先の雇用創出数や売上成長幅を管理 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 民間資金呼び込み(マッチング方式) ■ 産業化に向けた適切なKPI設定
CCRM	細胞・遺伝子治療の産業化に向けた支援 <ul style="list-style-type: none"> ■ VCとしての投資活動 ■ 民間企業へのサポート <ul style="list-style-type: none"> - 製造プロセス開発(製造自体も実施) - 開発戦略(薬事・償還・特許等) ■ 人材育成プログラム ■ 自身のケイパビリティを高める活動 ■ in-house開発 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 産業界出身者の巻き込み ■ 投資先を実機能で支援する仕組み

VC = Venture Capital, CCTCC = Canadian Clinical Trials Coordinating Centre, KPI = Key Performance Indicator, CCRM = Centre for Commercialization of Regenerative Medicine



政府支援組織が橋渡し部分へのVCとしての投資機能を有することが特徴。
組織が保有する専門知識・インフラ・ネットワークをフル活用し投資先の成長を企図。



1. 政府機関がVC機能を保有。支援対象のベンチャーに対して投資を行う
2. 政府機関が「イノベーションを起こすためのハブ」となり、専門知識(戦略立案・実行支援)提供、インフラ(共用オフィス・ラボ)提供、ネットワーク(産業界・アカデミア・投資家・病院・患者団体等)提供等、アクセラレータ的に活動する
3. 上記支援により、競争力の高い製品/開発品を生み出し、ベンチャーの企業価値は向上。政府はキャピタルゲインを獲得可能に



ドイツは、各州に点在する小規模プレイヤーを活かし、連携による競争力強化と橋渡し研究支援による医薬品実用化の推進により、高品質な医療提供と地域振興を目指す

エコシステム構築における政府の背景思想

既存のプレイヤーの競争力強化とネットワーク形成により、各地のエコシステムの強化・自立を目指す

背景・課題

政府の取り組み

各地域に、小規模プレイヤーが集積

基礎研究
橋渡し研究
事業化準備～事業化

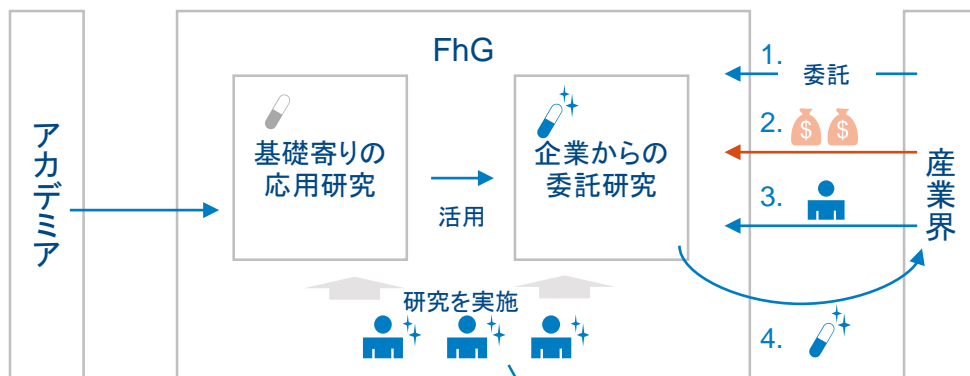
- アカデミアと製薬企業・周辺プレイヤーは小規模ではあるものの充実し、クラスタを形成
- 橋渡し研究部分は、民間組織の機能のみでは支援が不足している
- 小規模なプレイヤーが各地に分散しているため、大きな成長が見込めないことが課題

方針	取り組みの例		
	名称	目的・具体的内容	ポイント
<ul style="list-style-type: none"> ■ 連邦政府と州政府による共同支援 <ul style="list-style-type: none"> - 各取り組みごとに、連邦政府・州政府の負担割合が定められる ■ 医薬品の実用化・産業化支援と、各プレイヤーの強化を両面で推進 <ul style="list-style-type: none"> - 橋渡し研究支援のための拠点整備と、事業化を推進するための制度設計 - 各プレイヤーの国際競争力の強化 	フラウンホーファー研究機構	橋渡し研究・事業化準備支援 <ul style="list-style-type: none"> ■ 応用志向の基礎研究と企業委託研究 ■ 効率的なシーズの産業化を支援 ■ フラウンホーファーモデル <ul style="list-style-type: none"> - 産業化志向研究が研究機関にとって利益になるように資金配分制度を設計 ■ クロスアポイントメント制度や産業界との交流促進により人材の流動性を高める 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 産業化を政府が支援 ■ 自律的なシーズの産業化を促進する制度設計
	未来クラスターイニシアチブ	国際競争力を持つクラスタの育成 <ul style="list-style-type: none"> ■ イノベーション創出が可能なクラスタを育成する ■ フェーズごとの選抜や支援設計による育成 ■ 選抜・定期的な改選・集中支援により、有望なクラスターを育成 ■ 行政の支援割合をフェーズに応じて減らすことで自立を促す 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 定期的な審査による競争促進 ■ プログラム終了後の自立を目標



公的資金の投入方法や、実用化研究の研究者に対するインセンティブ設計の工夫により、橋渡し研究組織に産業界から自律的にヒト・カネが集まるモデルを実現。

フラウンホーファー (FhG)



2.

FhGにおけるエコシステム好循環の仕組み

1. 産業界が研究の委託や共同研究を依頼
2. 委託料の支払い等で民間から資金を獲得
3. 企業は投入した資金の効果最大化に向け、人材を投入。産業界から人材が流入する
4. カネ・ヒトが集まることで、優れたシーズを生み出すことが可能になり、より委託/共同研究が増加

上記システムを上手く循環させる仕掛け

- ① 公的資金での助成を一部に限定しているため外部からの積極的な資金獲得が必須
 - 政府負担の基盤経費は全体の1/3
 - 残りの運営資金は、研究の委託料等で民間から獲得した資金で賄う必要あり
- ② 産業界ニーズに沿った研究を行うことに対し、研究者にインセンティブを付与
 - 委託研究の研究担当者について、委託研究の顧客満足度で人材評価を実施。昇進・給与等に反映されるものと理解

① 政府
基盤経費の約1/3のみ負担
残りの必要資金は、産業界(2.)から獲得必須

② 人材評価
委託研究の顧客満足度で評価を実施。(4.)の質を上げなければ昇進できない

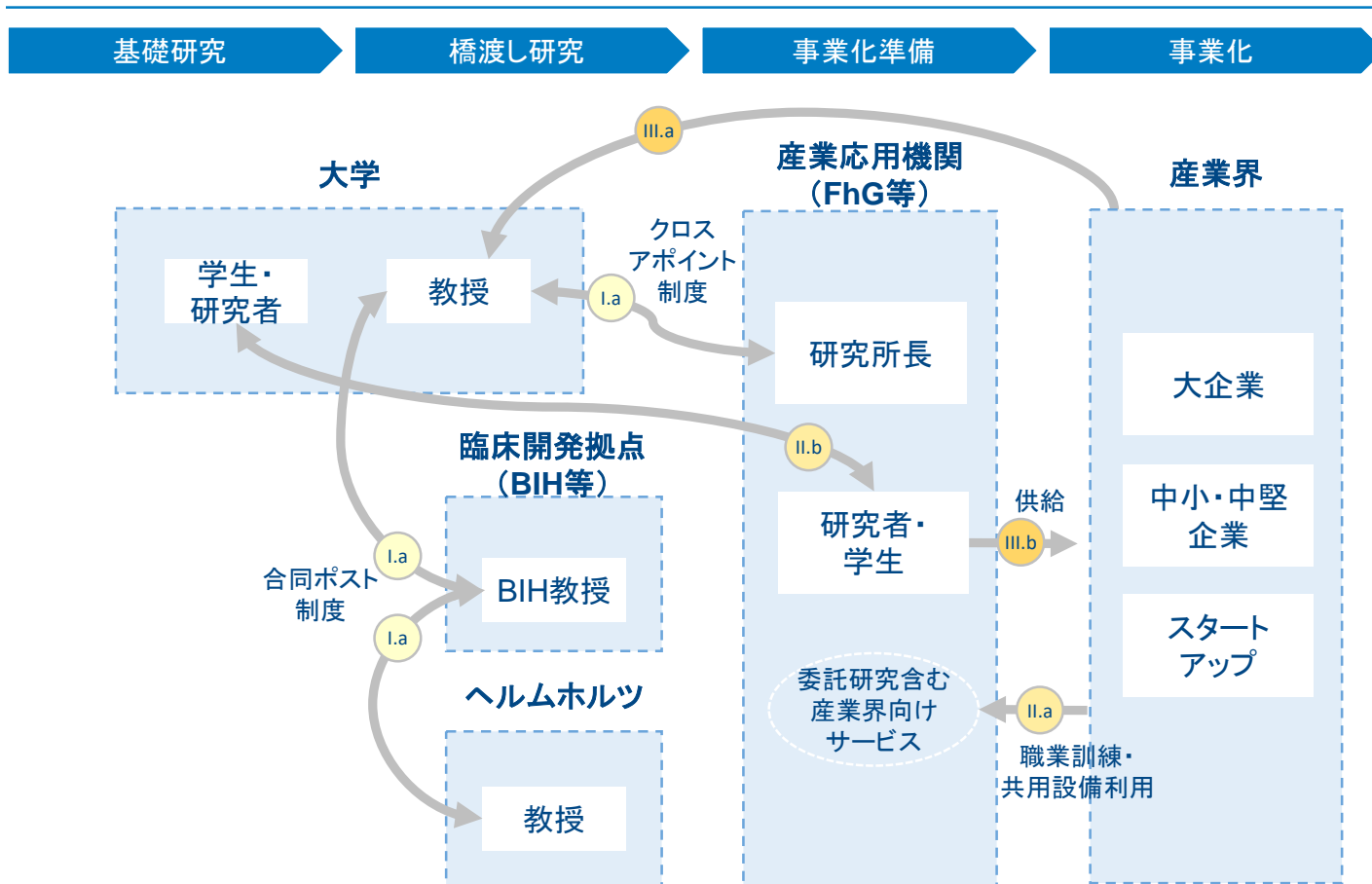
FhG = Fraunhofer-Gesellschaft (フラウンホーファー研究機構)



ドイツでは、兼任を可能にする制度や、産業応用機関への学生の関与により、アカデミア内、産業界含めて人材の流動性が高まっている

ドイツにおける研究開発に関連する人材の動き

関連する雇用制度



- I. 兼業制度**
 - a. クロスアポイント制度
※BIH教授はクロスアポイント前提のポスト(合同ポスト制度)
- II. 人材交流の促進**
 - a. 産業界からFhGへの委託、職業訓練・共用設備利用
 - b. FhGでの学生雇用
- III. 産学間の人材転出入**
 - a. 産業界→アカデミア:(特に工学部)教授職には産業界経験が必要な場合が多い
 - b. アカデミア→産業界:フ라운ホーファー任期後の研究者・卒業後の学生が産業界へ

FhG = Fraunhofer-Gesellschaft (フ라운ホーファー研究機構) BIH = Berlin Institute of Health
 出所: フ라운ホーファー研究機構ウェブサイト、研究開発戦略センター「主要国における橋渡し研究(TR)政策の動向について」「研究開発の俯瞰報告書 主要国の研究開発戦略(2020年)」「海外の研究開発型スタートアップ支援」「研究力強化のための大学・国研における研究システムの国際ベンチマーク」「科学技術・イノベーション動向報告～ドイツ～」, 日経ビジネス(2018)「ドイツ、フ라운ホーファーの研究力」
 © Arthur D. Little Japan



諸外国の取り組みは橋渡し研究部分に向けたものが多く、当該部分の支援充実化に向け、多様なアプローチ方針を取っている。

各国政府のエコシステム上課題意識
(赤:各国内で課題意識が強い箇所)

基礎 → 橋渡し → 事業化

特徴的なアプローチ方針

代表的な取り組み

	基礎	橋渡し	事業化	特徴的なアプローチ方針	代表的な取り組み
 日		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 技術移転・橋渡しの拠点を各地に整備することで、不足機能を補完(臨床試験、人材育成等) ■ 迅速な実用化に向けた制度設計も実施 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 橋渡し研究支援拠点・臨床研究中核拠点病院 ■ AMEDIによる助成金の一括配分
 英		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 産業の拡大を目的に支援を実施 ■ 産業界のトップ人材を政府支援組織に確保、一か所に集中させることでハイレベルな支援を効率的に提供 	<ul style="list-style-type: none"> ■ CGT Catapult、MD Catapult ■ NHSによる臨床試験効率化
 加		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 政府支援組織がVCとしての投資機能を保有 ■ 各種支援を投資効果の最大化を目的に実施 	<ul style="list-style-type: none"> ■ VCへの出資・官製VCの設立 ■ CCRM、adMare
 米	■			<ul style="list-style-type: none"> ■ 基礎研究に対して巨額の資金投下を実施 ■ 政府:ガイドライン整備、州政府:資金援助やエコシステムの仕組み整備等の環境づくりが目立つ 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 政府による事業環境の整備 ■ MLSC
 中	■	■	■	<ul style="list-style-type: none"> ■ まずはエコシステムの確立のため、政府は人材・企業の招致に向けた財政優遇を実施 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 海外ハイレベル人材の招致(千人計画) ■ 地方政府による各種支援策
 独		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 公的資金の投入方法や、実用化研究の研究者に対するインセンティブ設計の工夫により、橋渡し研究組織に産業界から自律的にヒト・カネが集まるモデルを実現 	<ul style="list-style-type: none"> ■ フラウンホーファー研究機構 ■ 産業クラスターのコンペ(未来クラスターニシアチブ)
 仏		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 政府は技術移転促進に向け人材制度整備 ■ また、技術移転・橋渡しの拠点を各地に整備し支援 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 起業人材確保・技術移転支援 ■ 拠点形成やネットワーク形成
 瑞		■		<ul style="list-style-type: none"> ■ 連邦政府を中心として研究・事業環境整備に取り組むことで、競争力を高めている 	<ul style="list-style-type: none"> ■ SNSF・Inosuisseによる研究助成 ■ 規制緩和・税制優遇

AMED = Japan Agency for Medical Research and Development, CGT Catapult = Cell and Gene Therapy Catapult, MD Catapult = Medicines Discovery Catapult, NHS = National Health Service, VC = Venture Capital, CCRM = Center for Commercialization of Regenerative Medicine, MLSC = Massachusetts Life Sciences Center, SNSF = Swiss National Science Foundation
出所:健康・医療戦略推進本部「健康・医療戦略(令和2年3月27日閣議決定)」、AMEDウェブサイト、橋渡し研究戦略の推進プログラム中間評価委員会「橋渡し研究支援総合戦略」(令和元年8月6日)、アーサー・デイトル分析

諸外国のエコシステム分析
各国のエコシステム創生に向けたアプローチ類型化

諸外国のエコシステム創生に向けたアプローチ方法を類型化すると以下の通り。

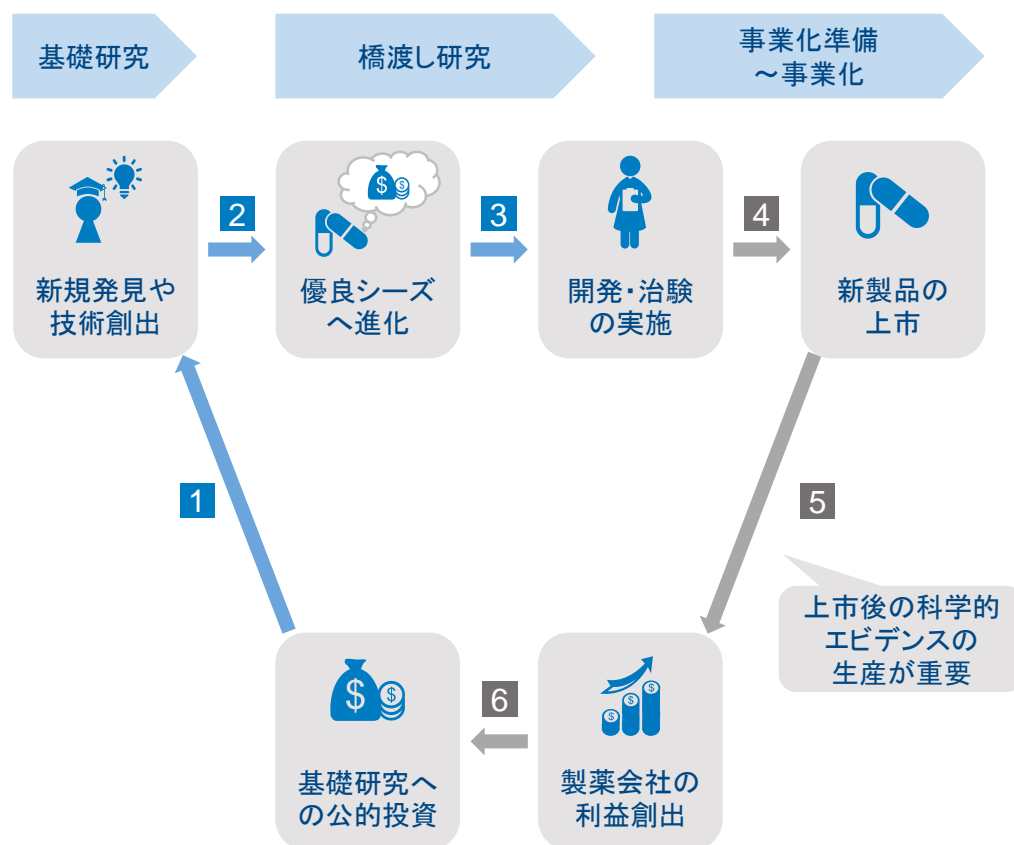
政府のエコシステム創生に向けたアプローチ方法の類型化

		プレイヤー招致型	環境整備型	広域支援型	地域支援型
イメージ		<p>アカデミア/ 製薬・初期ベンチャー支援 国内 アカデミア/ 初期ベンチャー支援 製薬企業 製薬企業 政府</p>	<p>基礎研究、事業環境整備 政府 アカデミア/ 初期ベンチャー支援 製薬企業 製薬企業</p>	<p>公的支援組織</p>	
代表国		中国	米国	英国、カナダ	日本、ドイツ、フランス
アプローチ方針	特徴・相違点	財政面などの優遇措置でプレイヤーごと招致・獲得し迅速にエコシステムを形成 (例:千人計画)	基礎研究や事業環境の整備に従事	広い地域からのシーズにつき、製造法開発等の実行支援を行う拠点を整備 (例:CGTC, CCRM等)	拠点を複数設置することで各地で橋渡し支援を実施 (例:臨中/橋渡し拠点等)
	共通点	大学での基礎研究 大学TLO等による、各地域での技術移転支援、等			
取り組みから推察される課題		エコシステムが無く、急速な整備が求められる	各事業段階でのプレイヤー・機能は充実。但し、維持拡大に向けた課題あり	橋渡し段階等、民間のみでは不足する支援機能が存在	

CGTC = Cell and Gene Therapy Catapult, CCRM = Center for Commercialization of Regenerative Medicine
出所: Step2よりアーサー・ディ・リトル分析

創薬エコシステム内部をヒト・カネ・情報が循環することでモノが生じる。主に基礎研究から治験の計画・実施の過程に課題があり、民間で出来ない課題に対し政府が対応。

創薬エコシステムの概要



創薬エコシステム上の課題とその対応

- 創薬エコシステムにおいては、左記のプロセスをヒト・カネ・情報が循環することで、基礎研究の成果(=モノ)が磨かれ、新しい医薬品として市場に出ていく
- 左図の1～3のプロセス(基礎研究～事業化)において課題が発生。政府は課題を解決するために取り組みを実施
 - ヒト・カネ・情報に関連した課題により、モノが次のプロセスの移行できないことでエコシステムの循環不良が起こる

諸外国のエコシステム創生に向けた政府の取り組みから考えられる課題のうち、特に日本に関連するものは以下の8個。

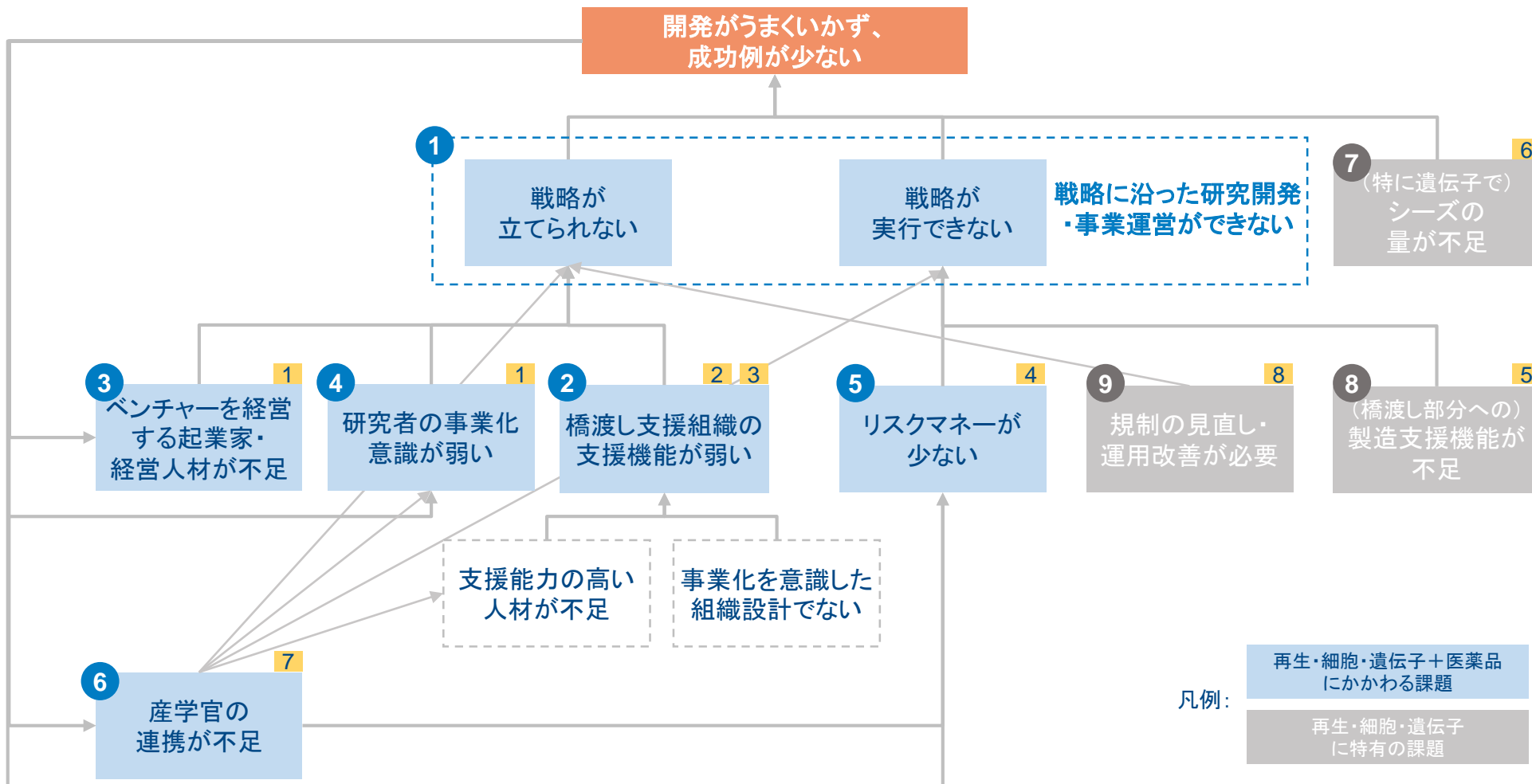
(諸外国政府が取り組んでいる)エコシステム上の課題全体像

日本・諸外国政府の具体的取組例



CGTC = CGT Catapult = Cell and Gene Therapy Catapult, MDC = Medicines Discovery Catapult, AMED = Japan Agency for Medical Research and Development, CCRM = Center for Commercialization of Regenerative Medicine, RWD = Real World Data

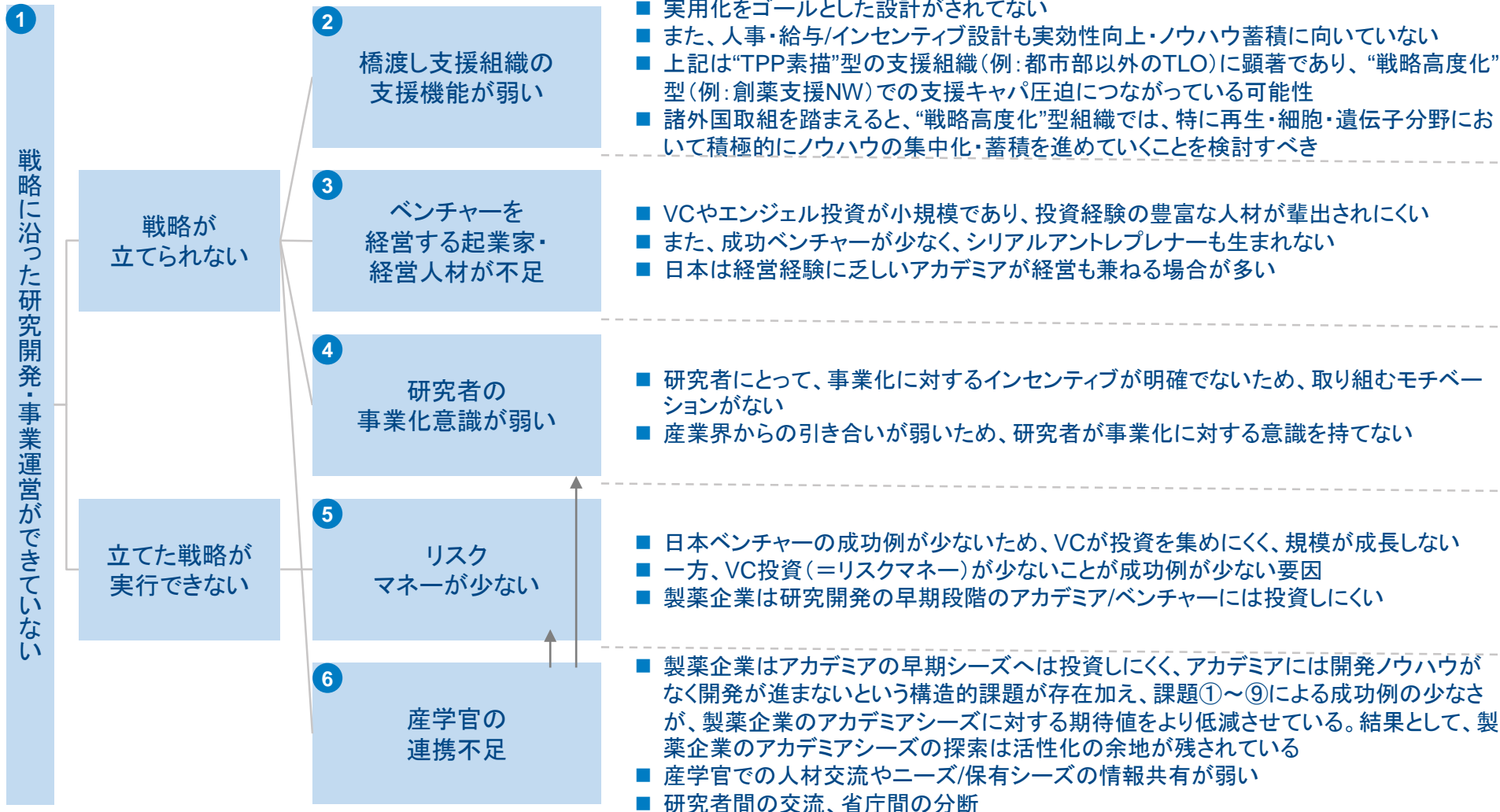
戦略に沿ったR&D・事業運営ができないために事業化成功例が少ない。



R&D = Research and Development

医薬品全体の課題

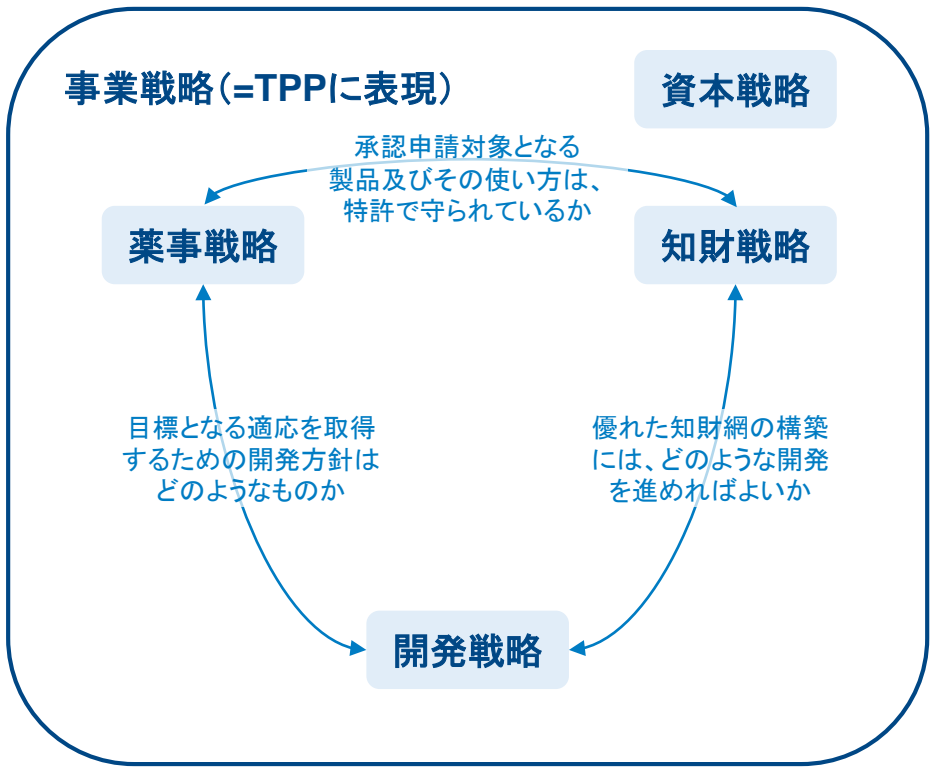
日本における現状の課題



1 日本のエコシステムにおける課題と解決方向性 立てるべき戦略

事業戦略は、個別戦略である薬事戦略・知財戦略・開発戦略の総体として、NPVや実現性も含むTPPにまとめられ表現される。このTPPがGo/No-go判断の根拠となる。

開発初期における各戦略の関係性



各戦略において検討する主要要素

- | | |
|------|--|
| 事業戦略 | <ul style="list-style-type: none"> ■ 事業価値の最大化を実現するために、どのような方針で各個別戦略を構築し、開発を実施していくか (TPPを作成し、Go/No-go判断を含めた組織内外のコミュニケーションのツールとすることが望ましい) |
| 薬事戦略 | <ul style="list-style-type: none"> ■ 想定市場規模や競合との関係性、承認取得の難度等を踏まえ、どのような適応取得を目指すか |
| 知財戦略 | <ul style="list-style-type: none"> ■ 対象製品の競合を広く排除し、権利を守り、価値を最大化するために、どのような範囲と内容で特許出願すべき(又はすべきでない)か |
| 開発戦略 | <ul style="list-style-type: none"> ■ 目指す適応の取得やその保護手段となる特許の取得を最小の費用・時間コストで実現するために、どのような試験をどのような順序で行うか |
| 資本戦略 | <ul style="list-style-type: none"> ■ (起業の場合)誰にどれだけの株式を渡すか (株式持分比率を後から変えることは困難。創業初期の時点から検討の必要有) |

NPV = Net Present Value, TPP = Target Product Profile: 「開発計画の設計図」として開発情報が記載され、将来的な事業判断の材料となる文書。FDA (Food and Drug Administration) が作成を推奨しており、内容として「Target, Annotation, Comments (添付文書に記載される適応症・用法・用量等とその根拠、FDAとのコミュニケーションを促進する追記情報) を記載することが例示されている
出所: 長手寿明「医薬品の売り上げ予測とプロジェクトの事業性評価」(2016)、内海潤「創薬研究のための薬事と知財の連結戦略ガイド」(2015)、有識者インタビューを基にアーサー・ディ・リトル作成

日本のエコシステムにおける課題と解決方向性 立てるべき戦略 TPP(Target Product Profile)とは

TPPとはいわば**開発計画の設計図**。サイエンス・薬事・ビジネスの情報を統合し、化合物特性や事業性として表現し、組織内外の情報共有・意思決定ツールとして用いる。

TPPとは

作成の 目的

- ①開発計画の足並みを組織横断的に揃える
 - TPPは、市場情報・開発情報・製造情報を統合し、合意形成をするための議論の受け皿となる
- ②将来的な判断の材料を提供する
 - TPPは、売上予測に基づく事業性の情報を含み、開発途中におけるGo/No-go判断の材料となる
- ③化合物の説明の材料とする
 - TPPは、社内(対経営層)外(対投資家、医師、当局、市場)への説明ツールとなる

→ TPPとは、**医薬品の新製品開発における開発計画の設計図として情報共有に用いられるツール**である

TPPの例

化合物特性

- 適応症: 閉経後女性の骨粗鬆症の治療及び予防
- 有効性
 - 1.治療
 - 1.1.骨折リスク
 - 1.1.1.椎体骨折リスク: 3年間投与後の累積リスクがプラセボ比50%低
 - 1.1.2.非椎体骨折リスク: 3年間投与後の累積リスクがプラセボ比50%低
 - 1.2....
- 安全性
 - 既存薬と比べ重篤な副作用の頻度に差が無い
 - ...
- 投与経路・頻度: 経口錠剤・1日1回

事業性

- NPV: xx百万円
- 累積成功確率: xx%

TPP作成時に考慮される主要素(詳細次頁)

サイエンス + 薬事

- 治療コンセプト
 - 標的・アプローチは確からしいか
 - 適切なバイオマーカーは存在するか
- エビデンス
 - 前臨床試験・臨床試験でのデータはあるか
- 開発計画・規制
 - 有効な開発計画が立案されているか
 - 規制面の優位点やリスクはどうか
- その他
 - 安全性・ADMEの確認度・懸念はどうか
 - 製造方法は確立しているか

ビジネス

- 売上
 - 額はどの程度か
 - アプローチし得る患者数・想定単価はどうか
 - 適応拡大の可能性はあるか
 - 想定売上高は確からしいか(その製品が本当に使われるか)
 - 解決するUMNIは大きいのか
 - 競合があるか・あれば競合対比でどのように優位か
 - 償還戦略は確立しているか
- コスト
 - 研究開発・製造におけるコストと投資額はどの程度か
 - 開発期間はどの程度か
- その他
 - 売上・コストを踏まえると、NPVはどの程度か
 - 想定されるリスクはあるか、それはどのようなものか
 - 競合するパイプラインがあれば、その開発段階は

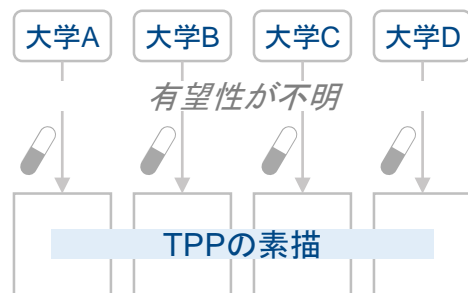
橋渡し支援組織にはTPPの素描と高度化を行う組織が存在。日本においては特に前者の機能強化が課題解決に有効である可能性。

イメージ

組織の特徴

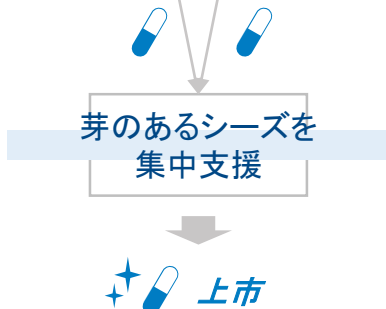
各国の取り組み

“TPP素描”
組織



“戦略高度化”
組織

磨けば光る可能性あり



- アカデミアに密着した支援を提供する組織
- 高度な戦略策定というよりは、戦略策定のための基本情報の収集や書き方指南を実施
- アカデミアに密着した支援が必要なことから拠点数は多い傾向

特に強化が必要な可能性
(理由は次ページ以降)

- 産業界出身者等の産業界ニーズを熟知した人材を擁する専門的組織
- 事業化成功確率を上げるために戦略をよりブラッシュアップする役割を持つ
- 専門性集約の観点から中央集約型組織となる場合が多い

- 仏: 特に初期段階への支援が充実
 - 特許庁の地方支局(21か所)で特許に関する無料相談
 - SATT(14か所): 企業への資金援助、戦略立案支援等
- 英: 大学TLOは特許事務所を紹介、特許戦略立案を支援
- 日本ではTLOや橋渡し研究支援組織、臨中等が当てはまる

- 英: CGT Catapultは、自組織に抱える専門家による重層的な支援により、企業化されたばかりのアカデミアシーズに対して初期の戦略立案からP2までの臨床試験を支援
- 加: CCRMは、カナダ外とのコラボも進めることによりノウハウを集積した上で、自組織のCDMOやVC等を組み合わせ、策定を支援する戦略の実効性を更に向上
- 独: フラウンホーファーには企業出身者が多数在籍。シーズの事業化において、実効性の高い戦略を立案
- 日本では創薬支援NWが当てはまる

具体的解決案とこれまでの取り組みとの差分は以下。

課題	日本の現状課題	具体的取組案	これまでの取組との差分	
戦略に沿った研究開発・事業運営ができていない	1 橋渡し支援組織の機能不足	<p>“TPP素描”型の支援組織</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 事業化をゴールとしたミッション・KPI設定 ■ 外部からの資金獲得を前提とした、運営資金の交付 ■ 出口を見据えたマーケ・営業活動強化 – ローテーション停止によるノウハウ蓄積 – 給与改善、出来高による報酬設計 <p>“戦略高度化”型の支援組織</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 再生・細胞・遺伝子分野特化組織の形成 	<ul style="list-style-type: none"> ■ これまでの取組では支援組織による支援の強化等については触れているものの、具体的改善案については触れていない ■ ADL案ではより具体的な課題(左記)を特定し、解決案に盛り込んだ 	
	2 起業家・経営人材不足	<ul style="list-style-type: none"> ■ “TPP素描”型の支援組織(例:都市部以外のTLO等)で以下が顕著 <ul style="list-style-type: none"> – 実用化を目的とした組織設計出ない – 実効性向上・ノウハウ蓄積に向けた人事・給与/インセンティブ設計でない ■ 特に再生・細胞・遺伝子分野の“戦略高度化”型(例:創業支援NW)でのノウハウ蓄積 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 海外からの経営人材の呼び込み ■ 学生に対するアントレプレナーシップ教育の充実化 	<ul style="list-style-type: none"> ■ これまでの取組では、経営人材が不足しているという課題についての言及はない模様 ■ ADL案では本課題を突き止め、解決案に盛り込んだ
	3 研究者の事業化意識が弱い	<ul style="list-style-type: none"> ■ VC、エンジェル投資家、成功ベンチャーが不足しており、起業・経営ノウハウを持った人材が国内に不足している 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 研究者に対する事業化への報酬設計 <ul style="list-style-type: none"> – 事業化を評価指標とした研究費交付、賞与などの設計等 ■ 副業・兼業制度の設計 ■ 学生に対するアントレプレナーシップ教育充実化 	<ul style="list-style-type: none"> ■ これまでの取組では、課題自体には言及 ■ ADL案では、海外事例などを参考に具体的な解決策(左記)を抽出し、解決案に盛り込んだ
	4 リスクマネーが少ない	<ul style="list-style-type: none"> ■ 研究者に対する事業化インセンティブが弱い ■ 製薬企業からの引き合いが弱い 	<p>※これまでの取り組みに加え、</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 海外(特に欧州)からVCを誘致する ■ (民間資金獲得を前提に)公的資金の投入 <ul style="list-style-type: none"> – VC自体やVC機能を持った支援機関の組成や、VCに対する資金提供 – 特に、1件当たり10億円程度の投資が可能なファンドの組成 	<ul style="list-style-type: none"> ■ これまでの取組でかなり取り組みが進んでいる分野と認識 ■ ADL案では、これまでの取り組みに付け加え、より具体的な解決策を左記のとおり抽出した
	5 産学官の連携不足	<ul style="list-style-type: none"> ■ 成功事例不足によりVC規模が小さい ■ 一方で、民間投資(主にVC)投資が足りないため、ベンチャー企業が成功しにくい ■ 製薬企業はアーリーフェーズの企業に投資しにくく、リスクマネーの担い手になりにくい 	<p>※上記①～⑤の施策による課題解決が産学連携の原動力となることを前提としつつ、</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 製薬企業からニーズについての情報開示を行う(wishリスト公開など)、国内シーズ探索をより積極的に行う ■ 産学官の交流の機会を継続的に促進 ■ 異分野交流の場を設計する 	<ul style="list-style-type: none"> ■ これまでの取組と概ね一致 ■ 一方、産学連携の不足は①～⑨の課題により成功事例が少ないことが根源的な課題で発生している。これら全ての課題を全体的に解決していくことが重要
	6 産学官の連携不足	<ul style="list-style-type: none"> ■ 製薬企業がアーリーフェーズのアカデミアやベンチャーに投資・協業しにくい一方で、アカデミア内には開発ノウハウがない ■ 製薬企業のアカデミアシーズの探索活性化 ■ 産学官での人材交流が弱い ■ 研究者間の交流、省庁間の分断 		

TPP = Target Product Profile, TLO = Technology License Organization, NW = Network, KPI = Key Performance Indicator, VC = Venture Capital

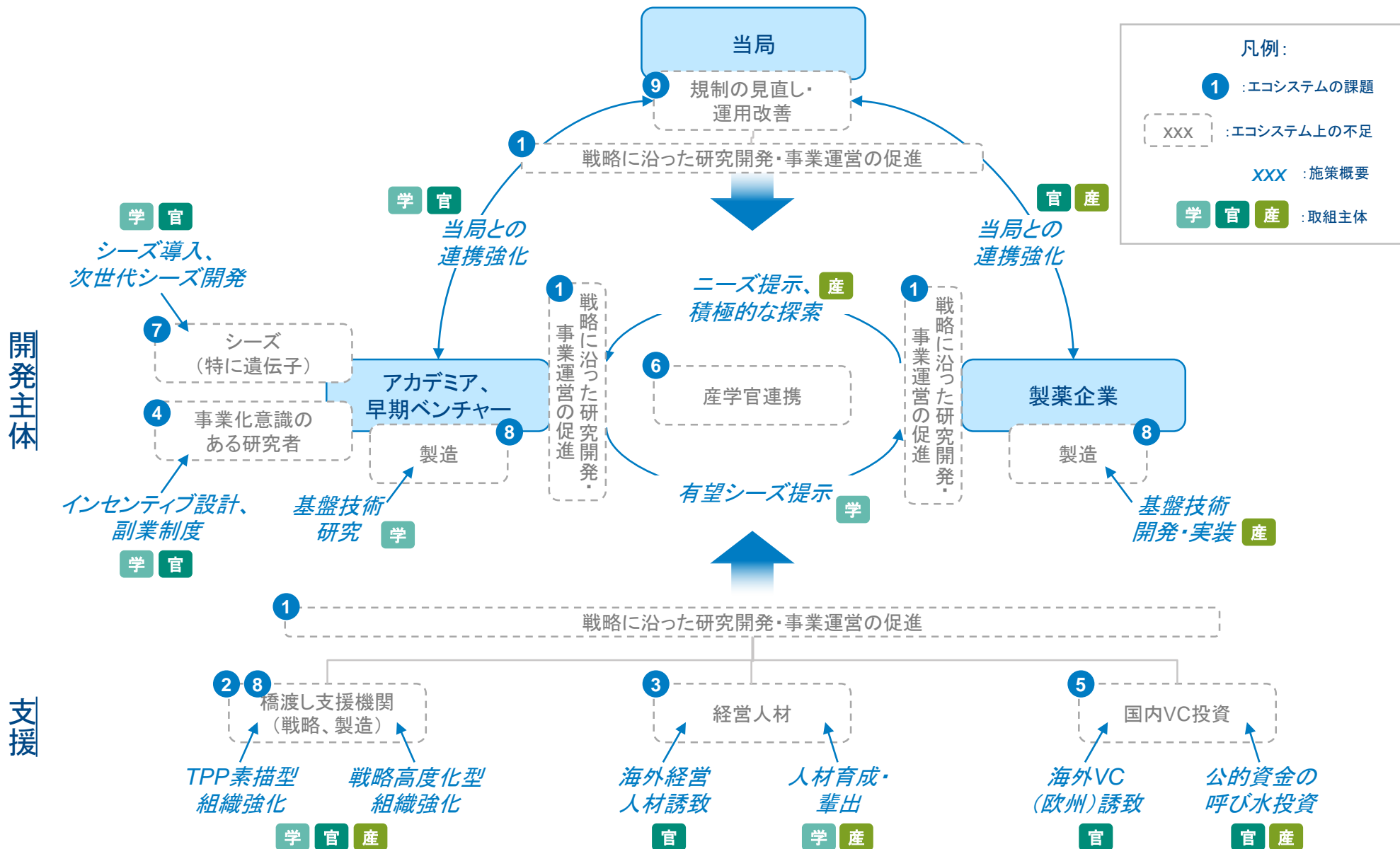
産官学の具体的取組案は以下。

課題	産業界	官	アカデミア	
戦略に沿った研究開発・事業運営ができていない	1 橋渡し支援組織の機能不足	<ul style="list-style-type: none"> [製薬企業にて医薬品開発、マーケティングや事業開発、経営企画を経験した人材の橋渡し支援組織への参画] 	<p>“TPP素描”型の支援組織向け</p> <ul style="list-style-type: none"> 外部からの資金獲得を前提とした、運営資金の交付 <p>“戦略高度化”型の支援組織向け</p> <ul style="list-style-type: none"> 再生・細胞・遺伝子分野特化組織の形成 	<p>TPP素描”型の支援組織向け(大学TLO等)</p> <ul style="list-style-type: none"> 事業化をゴールとしたミッション・KPI設定 出口を見据えたマーケティング・営業活動強化 <ul style="list-style-type: none"> ローテーション停止によるノウハウ蓄積 給与改善、出来高による報酬設計 <p>※橋渡し研究支援拠点(文科省)、臨中(厚労省)等、母体が官となる場合、上記を官で実施</p>
	2 起業家・経営人材不足	<ul style="list-style-type: none"> [製薬企業経験者による起業/ベンチャー経営への参画] 	<ul style="list-style-type: none"> 海外からの経営人材の呼び込み 	<ul style="list-style-type: none"> 学生に対するアントレプレナーシップ教育の充実化
	3 研究者の事業化意識が弱い	<ul style="list-style-type: none"> [研究者に対するニーズ共有、積極的なシーズ発掘] ※⑥と同様 [アカデミアシーズとの早期からの共同研究と、それによる人材・ノウハウの提供] 	<ul style="list-style-type: none"> 研究者に対する事業化への報酬設計 <ul style="list-style-type: none"> 事業化を評価指標とした研究費交付 副業・兼業制度の設計 	<ul style="list-style-type: none"> 研究者に対する事業化への報酬設計 <ul style="list-style-type: none"> 事業化を評価指標とした賞与の設計等 学生に対するアントレプレナーシップ教育充実化
	4 リスクマネーが少ない	<ul style="list-style-type: none"> 官民共同VCの運営 [アカデミアシーズ・バイオベンチャーに対する投資の推進] 	<p>※これまでの取り組みに加え、</p> <ul style="list-style-type: none"> 海外(特に欧州)からVCを誘致する (民間資金獲得を前提に)公的資金の投入 <ul style="list-style-type: none"> VC自体/VC機能を持った支援機関の組成 VCに対する資金提供、官民共同VC 特に、1件当たり10億円程度の投資が可能なファンドの組成 	<p>NA</p> <ul style="list-style-type: none"> リスクマネーを受けて開発を進める側で、アカデミア自体に実施することはない 強いて言えば、①～⑨の取り組みにより有望シーズを創出することでリスクマネー提供を受けやすくする取り組みが必要
	5 産学官の連携不足	<ul style="list-style-type: none"> 製薬企業からニーズについての情報開示を行う(wishリスト公開など)、国内シーズ探索をより積極的に行う [産官学の交流に積極的に参加] <ul style="list-style-type: none"> 人材交流の実施、開発に向けた戦略の考え方・ノウハウ、ニーズ等の共有・議論 	<ul style="list-style-type: none"> [産官学の交流の機会を継続的に促進] (学問の分野間の)異分野交流の場を設計する 	<ul style="list-style-type: none"> [産官学の交流に積極的に参加] <ul style="list-style-type: none"> 人材交流の実施、産業界から共有される開発に向けた戦略の考え方・ノウハウ、ニーズ等の把握とそれに沿った開発の実践 (学問の分野間の)異分野交流を行う
	6			

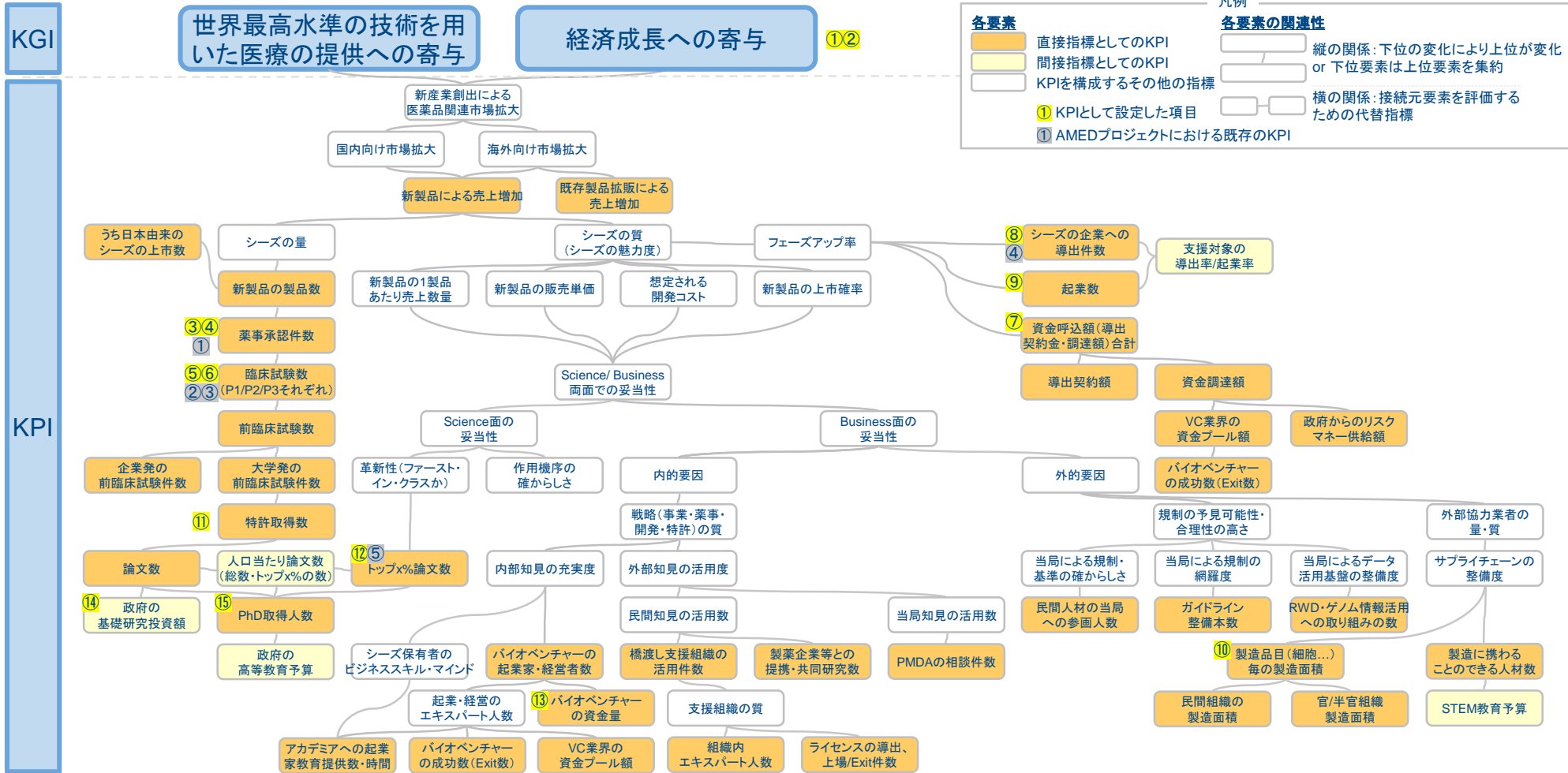
TPP = Target Product Profile, TLO = Technology License Organization, KPI = Key Performance Indicator, VC = Venture Capital, NA = Not Applicable

注:[] 内の内容については各々が取り組んでいくべき内容である一方で、当該取り組みが進まない根本原因は「エコシステム循環がうまくいかないことによる成功例の少なさ」である。特に、成功例の少なさにより醸成される期待の低さや、リスク感の高さが産学連携の妨げになっており、[] 内取り組みを推進するにあたっては、①～⑨の解決によるエコシステムの状況改善が必要になる

課題解決に向けた具体的取組案 産官学別の具体的取組案 全体像



KGIである経済成長の達成やそこに至る迄のプロセスを、量・質の両面で評価するKPIを取り上げ、エコシステムの創生状況を政府としてモニタリングしていくべき。



KGI = Key Goal Indicator, KPI = Key Performance Indicator, P1, P2, P3 = Phase 1, 2, 3, PhD = Doctor of philosophy, PMDA = Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, VC = Venture Capital, RWD = Real World Data, STEM = Science, Technology, Engineering and Mathematics

エコシステム創生がされているか否かを短期で確認するための指標として、KPIとそのモニタリング手法の素案を下記に提示。量だけでなくシーズや製品の質も測定する。

モニタリング手法素案

①等は前頁の各項目との対応を示す

KPIにより確認する項目

KPI素案^①等は前頁の各項目との対応を示す

KPI選定の理由

頻度 データ取得法 既存KPI^①との関連

エコシステムが創生されているか？	エコシステムの成果が実現されているか？	エコシステムは適切に機能しているか？	エコシステムへリソース供給が十分にされているか？	KPI素案 ^① 等は前頁の各項目との対応を示す	KPI選定の理由	頻度	データ取得法	既存KPI ^① との関連
				① 医療用医薬品の市場規模	■ 経済成長を直接的に測定できる指標であるため	量質	年1回	民間調査会社のレポート等 (IQVIA 等)より
	② 政府支援プロジェクトによる製品の売上高	■ 創薬エコシステム創出の取り組みにおける直接の成果であり、経済成長へ一部寄与するため	量質	年1回	AMED支援事業のデータ追跡・積み上げ			
	③ 薬事承認件数	■ 新製品は高水準の医療提供に直接寄与するため	量	年1回	PMDAで承認した新医薬品数をカウント	薬事承認件数(医・再・シ) ①		
	④ 製品化した政府支援プロジェクト数	■ 創薬エコシステム創出の取り組みにおける直接成果であり、高水準の医療提供に直接寄与するため	量	年1回	AMED支援事業のデータ追跡・積み上げ			
	⑤ P3試験開始のシーズ数	■ 承認・上市前の段階で、有効性や安全性がある程度認められたシーズの数を測定するため	量	年1回	PMDAのn回治験計画届出のうち第III相のシーズ件数	臨床POC取得件数(医、ゲ) ② 治験に移行した研究課題数(再)		
	⑥ P1試験開始のシーズ数	■ ヒトに対する試験を実施可能なレベルに至ったシーズの数を測定するため	量	年1回	PMDAの初回治験計画届出件数	非臨床POCの取得件数(医、再、ゲ) ③		
	⑦ 企業導出額・資金調達額の合計	■ 企業が投資してもよいと判断できるレベルのシーズがどの程度創出されたかを測定するため	量質	年1回	民間のベンチャー企業DB(データベース)等より積み上げ			
	⑧ 製薬企業への導出・売却数	■ 事業化の見込みのある有望シーズの数を測定するため(起業数より開発が進行した数を測定可能)	量	年1回	AMEDの各PJTの集計・製薬企業発表より積み上げ	シーズの導出件数(医、再、ゲ、疾、シ) ④		
	⑨ 起業する創業ベンチャー数	■ 事業化見込みのある有望なシーズの数を測定するため	量質	年1回	中小企業庁法人設立届出から創業関連企業数			
	⑩ 製造スペースの面積	■ 創薬エコシステムに必須の機能の一つであり、雇用創出にも寄与する製造機能の規模を測定するため	量	年1回	PMDAのGMP適合調査業務記録			
	⑪ 創業関連の特許数	■ 開発し得るシーズの数を測定するため	量	年1回	特許庁の医薬品分類の日本から出願された特許登録数			
	⑫ 創業関連のトップx%の論文数	■ インパクトの大きい発見は、有望なシーズになり得るため	量質	年1回	民間DBの被引用数上位創業関連論文のうち日本発件数	IFが5以上の科学誌への論文掲載件数(再・ゲ・疾・シ) ⑤		
	⑬ 健康・医療分野へのリスクマネー供給額	■ シーズの事業化のための資源投入の程度を測定するため	量	年1回	官民ファンド健康医療分野への支援額・民間調査データ合計			
	⑭ 政府の健康・医療分野の研究開発予算額	■ アカデミアシーズ創出のための資源投入の程度を測定するため	量	年1回	各省のAMED・関連インハウス研究機関向け予算の合算			
	⑮ PhD(医学・生命科学系)取得人数	■ シーズ創出の担い手の数を測定するため	量	年1回	文科省の医学・生命科学系博士号授与件数から取得			

KGI = Key Goal Indicator, KPI = Key Performance Indicator, AMED = Japan Agency for Medical Research and Development, PMDA = Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, P3, PI = Phase 3, I, POC = Proof of Concept, PJT = Project, GMP = Good Manufacturing Practice, DB = Database, IF = Impact Factor, PhD = Doctor of philosophy 1.健康・医療戦略推進本部「健康・医療戦略(令和2年3月27日閣議決定)」における各種プロジェクト(PJT)のKPI。(医=医薬品PJT、再=再生・細胞・遺伝子治療PJT、ゲ=ゲノム・データ基盤PJT、疾=疾患基礎研究PJT、シ=シーズ開発・研究基盤PJT 出所: IQVIAウェブサイト、AMEDウェブサイト、PMDAウェブサイト、中小企業庁ウェブサイト、特許庁ウェブサイト、JST「研究領域におけるTOPI0%論文数の国際シェア順位推移(7か国比較)」、健康・医療戦略ファンドタスクフォース事務局「健康・医療戦略ファンドタスクフォースの現状と今後の方針について(令和元年7月3日)」、文科省ウェブサイト