

講演 1

医薬品産業の
トランスフォーメーションに向けて

日本製薬工業協会会長

岡田安史

令和4年11月10日（木）

13:00~13:50

講演1では、日本製薬工業協会の岡田会長に医薬品産業のトランスフォーメーションについてお話しいただいた。

岡田会長は、創薬開発のビジネスモデルは1社ですべてを手掛ける垂直統合型から各分野の専門企業が連携して行う水平分業型へ変化したと解説。シーズ開発を担うベンチャー企業や臨床試験への国家等からの財政支援が重要だと述べた。また、日本の医薬品市場の縮小、そしてドラッグラグの再燃を食い止めるため、新たな薬価維持制度と革新的新薬の早期上市インセンティブの導入を提案した上で、医薬品産業政策は国民の健康寿命の延伸、経済成長、安全保障を担う国家戦略であるべきだと強調された。

創薬開発の現況

●製薬産業のめざす姿

本日は「医薬品産業のトランスフォーメーションに向けて」と題して、医薬品産業の現状と課題認識、そして課題解決の方向性についてお話し

します。

まず、製薬産業は、大きな環境変化の真ただ中にありますが、めざすべき姿、あるいは果たすべき使命は、国民の健康寿命の延伸に貢献することと基幹産業として日本経済の成長に貢献することの二つです。

製薬産業は、これまでHIV/エイズ、C型肝炎、

アトピー性皮膚炎、関節リウマチ、様々ながんなど、有効な薬の乏しかった疾患向けの新薬創出によって患者さんの満足度の向上に大きく貢献してきました。

●アンメットメディカルニーズの充足

製薬産業は、アンメットメディカルニーズを充足するための新薬創出をめざしていますが、モダリティ、すなわち創薬技術や手法も非常に多様化・高度化しつつあります。

近年の飛躍的なバイオテクノロジー技術の進歩により、従来の低分子医薬品に加えて、次世代抗体医薬品、細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬品といった多様なモダリティが登場し、これまでアプローチできなかった希少疾患、あるいは難病に対する薬剤の開発が可能になってきています。患者さんに新たな治療選択肢を提供できつつあるというのが、いまの技術の最先端です。

●創薬開発におけるベンチャーの重要性

一方で、近年の製薬産業のビジネスモデルの転換により、創薬の0から1を生み出す部分は、いまや企業の中から生まれてきているわけではありません。シーズはベンチャー由来が8割です。

特に、新規モダリティである抗体医薬品、あるいは遺伝子治療、細胞治療では、ほとんどの開発品が、ベンチャー由来です。言い換えれば、医薬品開発にベンチャーが欠かせないのです。

また、新規モダリティ、いわゆる抗体、細胞治療、遺伝子治療、核酸医薬品分野での開発品の世界の第1相試験以降の企業を国籍別に比較してみると、どの分野においても米国、並びにヨーロッパ諸国は多いことに加えて、遺伝子細胞治療では中国、細胞治療では韓国が奮闘しています。残念ながら、日本の企業はいずれのモダリティにおいても、1社も入っていません。

●日本のベンチャーの状況

なぜ日本は、新たな時代の創薬に立ち遅れているのでしょうか。それを探ると、日本のベンチャーの置かれている状況に原因があることが分かりま

す。

日本と米国を比べてみると、米国は創薬の初期段階から国を含めた様々な支援がある一方、日本では資金供給源の不足が課題になっています。日本の創薬ベンチャーにリスクマネーがまったく入っていないのです。特に、多くの研究開発費が必要となる臨床試験段階で手薄になっています。臨床試験では、1 Billion以上（約1400億円～1500億円）の投資が目安ですが、米国では多くの投資家や製薬企業が投資しているのに対して、日本では投資家が不足しており、製薬企業も第2相試験後半からの投資が主になっています。

各国のユニコーン企業（企業価値10億ドル超の非上場企業）数を比べると、米国、中国、インドでは右肩上がりに増えていますが、日本は全体数も少なく、また増える傾向にありません。企業価値の合計金額でも、日本はほとんどない状態で、ベンチャーが立ち上がっていません。

●新薬を生み出す国家支援

国民の命と健康を守り、経済成長や経済安全保障の強化といった国家の存続、あるいはその国家の発展の礎となるのは、科学技術力です。実際、米国、欧州、中国では科学技術、ライフサイエンスを国家の最重要分野と位置づけた上で、中長期的な目標を掲げて巨額の予算を投じています。日本以外では、国を挙げて科学技術を支援しているのです。

日本が、このライフサイエンス分野で科学技術立国となっていくためには、世界と戦える製薬産業の育成、日本において研究開発をすることに魅力を感じて日本が世界のイノベーションの創出拠点となるような国家支援が不可欠です。

具体的には、創薬ベンチャー支援等と税制優遇です。研究開発税制に関しては、令和5年度の税制改正に向けて製薬協として政府に対して要望をしているところです。

日本では創薬ベンチャー支援にリスクマネーが入っていないので、そこに国費を投入してほしいと要望し続けてきましたが、今般、創薬ベンチャー支援に対する3000億円の予算措置を含む補正予算

案が閣議決定されました。何とかこれをきっかけに、日本発のイノベーションにつなげていきたいと思っています。

ビジネスモデルの変化

●製薬産業のパラダイムシフト

イノベーションの創出力には国家の支援が不可欠だとお話ししましたが、一方で、製薬産業サイドにも原因があります。それは、製薬産業のビジネスモデルの変化です。

製薬産業界では、21世紀前後、世界中で規模を求める経営統合買収が活発に行われました。新薬を生み出すためには巨額のリスクに対応できる規模が必要であり、数千億円の研究開発費用を捻出できる規模が必要だと考えられました。しかしながら、近年は規模を追求するM&Aはまったくと言っていいほどなくなりました。

製薬産業のビジネスモデルは、1社ですべての機能を持つのではなく、水平分業へと大きく変化しています。

先ほどお話ししたように、かつては川上の研究開発から川下の販売に至るまで、すべてのバリューチェーンを内製化する、つまり、1社ですべての機能を持つという自前主義が一つの産業のビジネスモデルでした。それが水平分業へと大きく変わったのです。

バリューチェーンの各ステージは、ITデジタル技術の進歩などから、かなり高度化・複雑化・専門化したので、それぞれの分野で我々にはない強みを持っている企業と連携していくことが極めて必要になってきました。特に、創薬シーズの部分、0から1の部分は、創薬ベンチャー、アカデミアとの連携が不可欠です。

●世界市場での日本のプレゼンスの低下

また、先ほど医薬品のモダリティの問題に触れましたが、かつては低分子が主体であったのに対し、2020年の世界のトップ10の売上の主体はバイオ医薬品です。

現在もバイオ医薬品が主です。世界の医薬品売上に占める新規モダリティの割合も、右肩上がりに増加しています。日本企業はかつて感染症や生活習慣病の領域における低分子医薬品でいくつもブロックバスターを出して、世界の中でも大きなプレゼンスを発揮していましたが、バイオ医薬品開発という世界の潮流に完全に乗り遅れてしまったのです。

すなわち、創薬力の衰退は、国の施策だけでなく、製薬産業サイドが自らトランスフォームできなかったことにも由来しているのです。世界の様々なビジネスモデルの変化が原因の一つであり、そうした技術の潮流をキャッチアップできなかったということなのです。

●トータルヘルスケアへのビジネスモデルの転換

従来、製薬産業は、診断・治療をメインとしてきましたが、発症リスク予測などの予知・予防、生活改善アプリによる健康づくり、あるいは、エビデンスに基づく介護や共生社会を実現する製品やサービスなどの予後のライフコースといった、人の一生を通じて支えるビジネスモデルに進化させていかなければならない、と私は思っています。

これまでのような、いい薬をつくってMRが届けるという古典的手法では、製薬産業の存在意義はなくなっていく、あるいは薄れていくと私は考えています。

●デジタル協業へのビジネスモデル

いわゆるGAF A、Google、Apple、Amazon、Facebookの巨大IT企業は、健康アプリ領域にとどまらずにAI診断、オンライン診療などに参入しています。

我々もそういう分野にしっかり着手しなければ、GAF Aなどのプラットフォーマーによって、そういう世界が切り拓かれていくだけです。我々製薬産業もグローバルに多様化・高度化するヘルスケアニーズを充足していくために、創薬技術、最先端のヘルスケア技術でのキャッチアップはもとより、ビジネスモデルを大きく進化させていかなければならないのです。

●製薬産業のバリューチェーンの革新

次に、医薬品開発のバリューチェーンにどんな変革が起こっているのかについて触れます。

従来の医薬品開発のバリューチェーンは、製薬企業は1社単独で完結していました。しかしながら、創薬の難易度が上がり、また、新規モダリティなどの技術革新が相次いだことで、1社単独ではあらゆる技術分野に参入しながら、シーズ探索から承認申請までを完結するのが難しくなり、オープンイノベーションが主流になってきました。

●最先端科学技術と創薬研究

AIやロボットが、創薬の現場で活躍する時代となっています。スピードアップのみならず、いまはだいたい2万5000分の1程度と言われている成功確率が、AIやロボットを使用することで向上すると期待されています。

量子センサで1細胞レベルの状態把握ができたり、量子計測技術で小型かつ1万倍の感度を持つMRIが実現したりするなど、量子コンピュータ分野での創薬活用がされ、さらに、非常に短時間で精緻な解析などが可能になるでしょう。

●臨床試験の革新

臨床試験も変化します。研究開発で最も費用がかかる臨床試験の効率化、成功確率の向上をめざしたアダプティブデザイン、アンブレラ試験、バスケット試験などの新たな知見デザインが生み出されてきています。

また、新型コロナウイルス感染症の感染拡大に伴い、感染リスクのため来院が困難となったことから、来院が不要なオンライン治験の環境整備も進んできました。ちなみに、オンライン治験は中国が非常に進んでいます、世界中での同時開発も右肩上がりに増えてきています。

臨床試験の中でも、昨今話題となったのがリアルワールドデータの活用です。臨床試験の効率化にとって、やはりリアルワールドデータは患者さんの層別化、治験対照群としての活用、適応追加などに活用できると考えています。例えば、治験が困難である非常に希少な男性の乳がんにおける



医薬品産業のトランスフォーメーションをテーマに講演

治療薬の開発では、リアルワールドデータが使われました。

また、緊急時の薬事承認のあり方については、パンデミック時に有効性と安全性とのバランスをとりながら、いかに早く患者さんにワクチンを届けるかといった問題から、日本版EUAの必要性、あるいは免疫原生というサロゲートマーカーの活用など、重要な議論がなされてきました。本年5月の薬機法改正で、日本でも緊急承認制度が創設されました。

医薬品の製造手法の革新

●水平分業の進展

続いて、医薬品の製造に関する最近のトレンドについて話します。

従来の低分子化合物の製造に比べて、バイオ医薬品の製造には多大な投資が必要となります。最近の事例でも、数千億円規模の投資が必要だとされています。新規モダリティのシーズは極めて規模の小さなベンチャーが0から1を見つけます。それを大企業に売ります。一方で、バリューチェーンの出口や新しいモダリティの製造には巨額の設備投資が必要です。

こういった状況から、CMO（医薬品受託製造企業）とか、CDMO（医薬品受託開発製造企業）といったビジネスが広がり、医薬品分野では水平分業が進んでいます。

●医療サービス、流通の革新

医薬品医療サービス、医薬品流通の革新的な事例を少し紹介します。

私は、中国エーザイの事業にも関わっているのので、その事例を紹介します。我々は中国の京東とともに合弁会社をつくりました。アクティブユーザーは3億人を超え、売上が10数兆円もあるという巨大なプラットフォームです。オンライン診断・診療、オンライン薬局、薬剤の配送までをカバーするワンストップのヘルスケアプラットフォームを構築しています。

特に、オンライン診療では、信頼性を高めるために患者さんが主治医を選べる仕組みになっています。また、配送にはドローンが認められています。ドローンは軍事技術なので、どの会社でも認められるわけではありませんが、京東には政府の認可がありました。ドローンを使って、辺縁部へもほぼ翌日配送を可能にしています。

実は2019年12月、武漢で新型コロナウイルス感染症が発生した直後、武漢は外とは完全シャットアウトされた世界になりましたが、2か月後に京東では、武漢地域へ医薬品を届け続けるためのプロジェクトが立ち上がりました。そのときに活用したのが無人車です。武漢の中を無人車が駆け巡って医薬品を配送したのです。それを見たとき、パートナーにするならここだと思い、提携交渉をしました。

日本と中国では、規制環境に違いがあります。ですから、同じように日本でできるかは別の話ですが、こういった流通だけではないワンストップのプラットフォームをつくることで、例えば、認知症薬の配送システムや専門医のネットワークといったWin-Winの関係ができ、それを強みとして攻めることで医薬品流通の改革が起こるのではないかと考えています。

●健康・医療ビッグデータの利活用

次に、データの利活用を見ていきます。

世界で電子カルテの普及と医療データの活用がどれくらい進んでいるかです

が、2017年、日本の電子カルテの普及・標準化等は、OECD諸国の中で最下位でした。

国民皆保険下で蓄積された極めて均質なデータを保有する日本のデータは、データ活用システムを構築するための強みになると私は確信しています。そのためにも、データの利活用は最重要課題と考えて取り組んでいきたいと思っています。

●目的に応じた最適なデータベース

世界では、健康医療ビッグデータ、あるいはリアルワールドデータを活用した薬事承認やエビデンス構築、全ゲノム情報の実臨床における活用など、いろいろな分野でデータの利活用が進んでいます。今後の医薬品開発、医療の質の向上並びに効率化のためには、AI、あるいはビッグデータの活用が不可欠であり、DXの推進が大前提になってくると思います。

そこで、製薬企業としてどういうデータが必要なのかを少しだけ掘り下げて紹介します。創薬研究においては、病態解明や創薬標的の同定をめざして、どんな遺伝子が病気の発症や進行に関わっているのか、その遺伝子によって血中や臓器にどんな変化が生じているのか、という詳細な情報が必要になります。

そういった創薬のためのデータは、何万人という大規模なデータよりも、非常に深いデータが必要です。網羅性はなくても、深く詳細なデータが適しているのです。

一方、臨床開発、さらには市販後臨床として考



創薬開発のビジネスモデルの変化について解説

えた場合は、例えば、疾患名や検査値など通常の診療で取得されるデータがあればほぼ十分で、その代わりに大規模なデータが必要になります。いま、製薬協の様々なプロジェクトで、この分野でこのようなデータが必要であるといった、具体的な内容を検討し、議論を繰り返しているところです。

そのさわりだけお話しすると、データ利活用の重要性があちこちで訴えられていることはご承知のとおりですが、我々製薬企業も「何かデータを使わせてくれ」と要求するのではなく、データ利活用によってどのような未来をつくり出すことができるのか、あるいはどのような便益を国民に還元できるのかといったことを示す説明責任があると思っており、そのことを事あるごとに示すべきだと考えています。そのため「こういうデータがもらえれば、このような活用法がある」と具体的な提案をするように心がけて動いています。

繰り返しになりますが、やみくもに「データを使わせてくれ」ではなく、「こういうデータを必要としている」と具体的に提案するといった段階にきていると思います。

イノベーションの評価

●縮小する日本の医薬品市場

イノベーションエコシステムの構築に向けて、これまで国家支援の必要性をお話ししました。また、製薬産業のビジネスモデルやバリューチェーンの展開に合わせて我々自身もどんどん変化しなくてはならないとお話ししました。

さらに、データ利活用の重要性もお伝えしましたが、最終的にそういった取り組みから生み出される革新的なイノベーションの評価という点についてお話しします。

世界の市場が直近5年間での年平均成長率が5.1%も伸びて1.3倍に増加したのに対し、日本の医薬品市場は年平均成長率マイナス0.5%と微減です。先進国で唯一減少しているのが日本です。

日本市場の国際競争力が低下しており、世界の

中で日本市場の魅力、投資優先順位は低下し、具体的にドラッグラグ、さらにはドラッグロスがいままさに生じています。

●日本と世界のイノベーションの評価の乖離

市場が成長しない要因は、やはり薬価引き下げのメカニズムにあります。薬価引き下げについては、長期収載品やジェネリックだけではなく、特許期間中の新薬にも及んでいることが大きな問題だと思っています。

グローバルな売上上位30品目について、その薬価収載時の価格を100とした場合の現在の価格水準を代表的な創薬国である日本、米国、英国、ドイツで比べてみると、100%以上のもの、つまり一切薬価は下がらず、むしろ値上げも含めて価格が維持されているものが他国では多いのに対して、日本では特許期間中であっても29品目のうち23品目の価格が引き下げられています。

●増加する国内未承認薬

先ほどドラッグラグが再燃していると言いましたけれども、欧米で承認されて処方されているにもかかわらず、日本では使用できない未承認薬が2016年以降増加傾向にあります。2016年は市場拡大再算定が入った年です。2018年には薬価制度の抜本改革があり、その後中間年改定等もあったわけですが、2016年以降、国内未承認薬が非常に増えてきています。例えば、2020年では欧米で承認された新薬243品目のうち176品目が日本で未承認になっています。

その176品目がどのような薬かを調べてみると、米国では各種の優先審査、ファストトラックやブレイクスルーセラピーのカテゴリーの品目、つまり、非常に重要で先進的なものと指定されている品目が多いのです。

また、臨床的に重要度の高い欧米ではオーファン指定された医薬品の国内未承認が増えていたことも付け加えておきます。言い換えると、国内未承認薬は国民が必要とする最新の医薬品が多く、日本の現行のシステムの下で明らかに国民に不利益が生じていると言えます。

新薬に関する新たな薬価制度

●医薬品市場のめざす姿

では、日本の医薬品市場をどうすればいいのかについて、私の考えをお話します。

まず、日本の国民の皆さんが世界に遅れることなく革新的な新薬にアクセスするためには、欧米先進国に比肩する成長を確保する特許品市場の成長が必要です。特許期間中の薬剤は価格が維持されるのがグローバルスタンダードです。ところが、いまの日本ではどんどん下がっていく仕組みになっているので、これをきちんとグローバルスタンダードにしなければ、誰も日本で治験をしなくなります。

一方、評価のメリハリを強化することで、財政制約の下で市場全体としては緩やかな成長をめざすのが最適だと考えています。現在、日本市場の魅力度の低下、未承認薬の増加という二つの要素からなる革新的新薬の患者アクセスに係る懸念という課題に日本は直面していますが、これを解決するための製薬協の薬価制度改革提案を説明します。これは、厚生労働省の有識者検討会でも提案しました。

●新たな薬価維持制度

提案内容は、新たな薬価維持制度と革新的新薬の早期上市インセンティブの2点です。

現行の新薬創出等加算は、導入からすでに10年以上が経ちました。後発医薬品の割合8割の目標は、ほぼ達成しました。そして、新薬メーカーでは、長期収載品からの収益に依存せずに新薬による収益を次の研究開発に再投資するというサイクルが定着しつつあります。

一方、新薬創出等加算は特許期間中の価値を守るとして2010年にスタートしましたが、現在は特許期間中の医薬品にもどんどん切り込みがなされています。したがって、現行制度の下で再び未承認薬の増加が顕著なのです。

以上のことから、この患者アクセス促進や薬価維持制度を刷新することを提案します。新制度の

ポイントは二つで、一つは特許期間中の革新的新薬を従来の市場実勢化価格による改定の対象から除外してシンプルに価格を維持することです。ただし、特許期間中の薬価を無条件で維持し続けるのではなく、上市後に得られたリアルワールドでのエビデンスやガイドラインの位置付け等の変化に基づき、すなわち科学の観点に基づいて薬価を見直します。

●早期上市インセンティブ

もう一つの革新的新薬の早期上市インセンティブの導入は、喫緊の課題であるドラッグラグへの緊急対応として、特定の品目を対象に評価上のインセンティブを与えるというものです。内資、外資にかかわらず、こういうインセンティブをつくることによって、世界の中で日本でできるだけ早く治験を行うインセンティブをつけるための仕組みです。

海外から遅れることなく日本で収載される新規性の高い品目、あるいは海外で承認されているが日本で未承認の難病、希少疾病等の極めて医療ニーズが高い品目を対象に、このプロセスを新たに入れることで、できるだけ早く承認する仕組みです。つまり、そのような品目を新たな価値評価プロセスで評価するものであり、薬事承認前から医薬品の価値を客観的に評価し、それに基づいて薬価算定を行う仕組みです。

この仕組みのポイントは、製薬企業が主体となって医薬品の価値を説明し、第三者機関が、その妥当性を評価して報告書等が公開される点です。我々はこういう価値があると主張し、それが水面下ではなくてオープンに評価されることを企図しています。国民にも見える形にし、透明性の高い仕組みにすることを併せて提案しています。

製薬協のコミットメント

●革新的ソリューションを創出するバイオコミュニティの形成

ここまでイノベーションエコシステム構築に向

けた課題と解決の方向性をいろいろな観点からお話ししましたが、最後に我々のコミットメントをお伝えしたいと思います。

有望なシーズがあって、いろいろなプレイヤーがいて、最後の出口としてイノベーションが世に生まれますが、有望なシーズを保有するアカデミアやベンチャーを、ベンチャーキャピタル、あるいはAMED、MEDISO、InnoHubといった機関が伴走支援して、出口戦略では、我々製薬企業が大きい貢献することで革新的なヘルスケアソリューションが生まれると考えています。

この日本発のイノベーション創出に、我々製薬産業はしっかりコミットしなければならないと思っています。我々もグローバルで活動しているので、バイオコミュニティという観点では、ボストンやケンブリッジ、サンフランシスコ、ロンドン、中国などにアンテナを張っていますが、「これからは、日本で0から1が生まれ、そこに製薬産業としてしっかりとコミットします」ということを表明しているところです。

これについては、国の「バイオ戦略2020」に基づいて、イノベーションエコシステムの形成となるグローバルバイオコミュニティが今年4月に内閣府より認定されました。

●製薬協による拠点連携強化

我々製薬協は、グローバルバイオコミュニティにおける連携を強化して、より積極的にコミットしていくことを改めて強調したいと思います。

その中でも、東京圏を中心としたGTBの本郷・御茶ノ水・東京駅エリアにおいて、これまでの延長線上に一線を画した取り組みを行うことで、東京大学の藤井輝夫総長、東京医科歯科大学の田中雄二郎学長、製薬協の三者会談を行い、連携強化に向けたキックオフ会議を9月27日に開き、10月12日にリリースしました。日本発のイノベーション創出をまずこの地域から出しましょうということで、しっかりタグを組むことを宣言しました。

また、この度、創薬ベンチャー支援に補正予算案として3000億円の予算が措置されたので、どう活用しようかと議論している最中です。

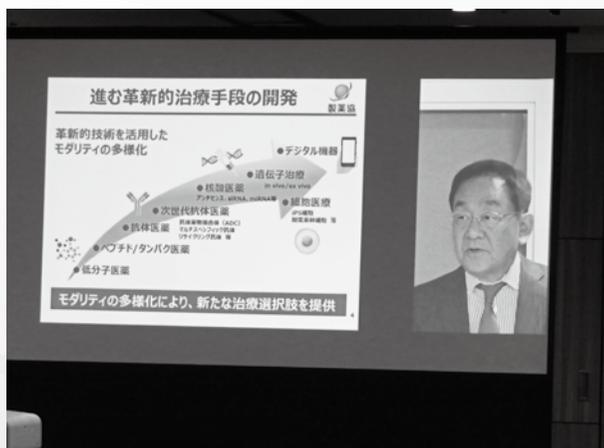
●製薬協のバリューチェーン構築への貢献

イノベーションの出口戦略への貢献、それから0から1を生み出すバイオコミュニティとの連携について、出口部分のコミットメントと入口についてお話ししましたが、我々製薬協は、その間をつなぐバリューチェーンの構築をめざして人材育成にも力を入れていきます。有望な創薬シーズを社会実装するためには、資金、設備はもちろん必要ですが、基本的にこのバリューチェーンのエコシステムを動かす人材が不可欠です。

新型コロナウイルスの研究開発で日本が直面した国内製造基盤及び臨床環境の不備について、政府はデュアルユースの製造設備に追加で補正予算案として1000億円という予算をつけられました。しかしながら、製薬協のワクチンメーカーの担当者は同意見で、設備をつくっても人材がいないことが課題になるということです。バイオの専門家が少ないので、この設備を動かす人材育成が必要であり、我々製薬協はそうした人材育成にもしっかりコミットすることを、この場で申し上げたいと思います。

終わりになりますが、製薬協は、国家戦略として、医薬品産業政策の下で、国民の健康寿命の延伸と日本経済の成長、さらには経済安全保障に貢献していきたいと思っています。そのような思いをお伝えし、本日のお話を終えさせていただきます。

ご清聴誠にありがとうございました。



様々な資料を示しながら講演する岡田会長