

概要

新規創薬モダリティに関する国内外研究開発の現状調査とAMEDの支援体制に関する考察

株式会社野村総合研究所
コンサルティング事業本部
ヘルスケアサービスコンサルティング部

2023年3月24日

NRI

Share the Next Values!



目次

1. 本調査の概要
2. 研究開発動向
3. 我が国の抗体・核酸医薬品のバリューチェーンの特徴と課題
4. 今後の展望（支援の方向性）

1. 本調査の概要

背景・目的と調査内容

背景 目的

- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下AMED）は、第3期中長期計画の策定に向け、医薬品分野の研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境整備について検討中である。
- 本検討では、研究開発の進展が著しいバイオ医薬品分野に着目する。バイオ医薬品は新しい技術を用いた創薬モダリティの実用化が急速に進み、産業構造が劇的に変化している。一方で、AMEDの令和2年度の医薬品プロジェクトの支援課題では、バイオ医薬品の研究開発が極めて少ない状況となっており、AMEDの支援の方向や事業構成がグローバルな医薬品開発の潮流から乖離していることが懸念される。
- そこで、新規創薬モダリティを用いた研究開発に関する最新の動向を調査し、具体的な事例を基に比較分析することで課題を見出すとともに、AMEDに必要とされる施策を提案し、AMEDの第3期に向けた戦略立案に資する情報を整理する。

調査 内容

- AMEDの支援の対象を明らかにするため、バイオ医薬品全般の研究開発動向を調査した。特に、日本発グローバル上市品があり、市場規模・成長率が大きい抗体医薬品と新規モダリティとして急速に研究開発が進展し上市がなされている核酸医薬品に注目し、国内外の上市品・研究開発品の概要（パイプライン数・特徴、研究開発を主導する企業、臨床試験情報）を整理した。
- 抗体・核酸医薬品の創薬～上市に至るバリューチェーンについて、基礎研究、臨床開発、製造・サプライチェーン、知財戦略のフェーズごとに現状と課題をまとめた。
- 各フェーズの課題に対する現状の打ち手を整理するとともに、AMEDのあるべき姿と現状の支援状況の差分を明らかにし、今後のAMEDの支援の方向性を導出した。

1. 本調査の概要

調査結果：課題に対するAMEDの支援の方向性として、8つの仮説を立案

- 今後の課題は、国内シーズを基にした創薬の実行性を強化することにある。実行支援の方向性としては、ビジネス観点での専門家人材の利活用やビジネス関連業務のハンズオン支援拡大、TLOなど重要業務を担う人材の経験値の向上に資する施策などである。その他、当該領域への資本の呼び込みや資金使途の柔軟性向上も検討の余地がある。
- 課題（事業化、出口戦略、投資の呼び込み）に対するAMEDの支援の方向性として8つの仮説を立案した（詳細は次頁以降）。

支援項目	課題	課題に対する解決の方向性	取りうる施策仮説
事業化	ビジネスプラン策定	事業化機能強化支援 (経営・事業開発人材の獲得、育成)	(1) 現行支援の強化・認知向上
	知財戦略	TLO機能強化支援 (人材獲得、育成)	(2) 先進TLOの機能強化
		第一号特許の作り込み促進	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	治験設計	治験推進機能強化 (CROマネジメント人材獲得、育成)	(4) 認定VC制度の活用
		非臨床試験、臨床試験用の医薬品製造	(5) 医薬品開発段階の助成対象や助成金使途の柔軟性向上
出口戦略	国内	国内の産学官臨の連携支援	(6) 国内の中堅製薬企業、CDMOとの連携促進
	海外	海外の産学官臨の連携支援	(7) 海外ステークホルダーとの連携促進
	資金	バイオ系VCの母数の増加	(4) 認定VC制度の活用
		投資テーマ・投資先配分の再設定	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
投資呼び込み	設備	ウェットラボ利用機会の増加	(8) 産学連携ラボの拡充、シェア型ウェットラボの利用促進

1. 本調査の概要

調査結果：8つの仮説から3つの支援策を提案

- 今後の課題は、国内シーズを基にした創薬の実行性を強化することにある。実効性強化策として特に重要と考えられる施策は3つ。
1. 研究支援、2. 事業化支援、3. 非臨床・臨床試験支援である。

支援項目	課題	課題に対する解決の方向性	取りうる施策仮説
事業化	ビジネスプラン策定	事業化機能強化支援 (経営・事業開発人材の獲得、育成)	(1) 現行支援の強化・認知向上
	知財戦略	TLO機能強化支援 (人材獲得、育成)	(2) 先進TLOの機能強化
		第一号特許の作り込み促進	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	治験設計	治験推進機能強化 (CROマネジメント人材獲得、育成)	(4) 認定VC制度の活用
非臨床試験、臨床試験用の医薬品製造		(5) 医薬品開発段階の助成対象や助成金使途の柔軟性向上	
出口戦略	国内	国内の産学官臨の連携支援	(6) 国内の中堅製薬企業、CDMOとの連携促進
	海外	海外の産学官臨の連携支援	(7) 海外ステークホルダーとの連携促進
投資呼び込み	資金	バイオ系VCの母数の増加	(4) 認定VC制度の活用
		投資テーマ・投資先配分の再設定	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	設備	ウェットラボ利用機会の増加	(8) 産学連携ラボの拡充、シェア型ウェットラボの利用促進

【研究支援】

事業化も念頭に置いた委託研究事業の柔軟な仕組みの検討

- 幅広い支援が必要な基礎研究の助成のあり方
- 出口を見据えた支援が必要な応用研究の助成のあり方

【事業化支援】

ビジネス観点での開発・知財戦略立案を担う人材をOn-JTで育成

- 橋渡し拠点の強化
- 企業との連携による人材交流
- 認定VCの活用

【非臨床・臨床試験実行支援】

小ロットの治験薬製造に対応できる仕組みを確保

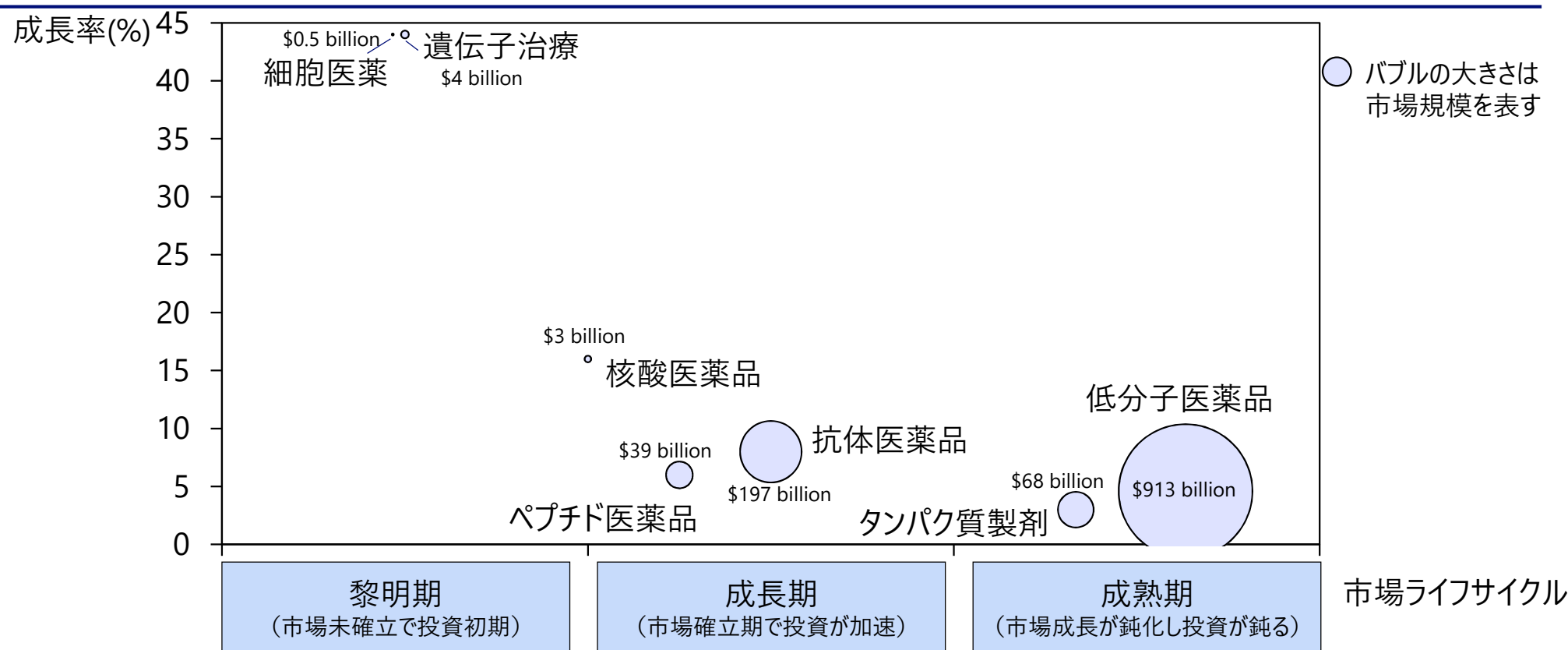
- 国内CDMOへの支援
- アカデミア、ベンチャー・スタートアップとCDMOとの連携体制を支援
- 既存の製造基盤の整備・活用

2. 研究開発動向

バイオ医薬品は低分子医薬品と比べて市場規模は小さいが、高い市場成長が見込まれる

バイオ医薬品は高分子、中分子に大別される。高分子、中分子において、研究開発が盛んなモダリティは、市場ライフサイクルが成長期に位置づく抗体、核酸、ペプチドであり、低分子医薬品に比べて市場規模は劣るが市場成長率が高い傾向にある。本検討では、創薬から上市まで開発フローの課題抽出の観点から、日本発のグローバル上市品を有する抗体、核酸に注目する。

各モダリティ¹⁾の市場規模²⁾と市場成長率³⁾



1) 低分子医薬品とは、化学的に合成された化合物のうち、分子量が小さく、重要なタンパク質を標的にして細胞に浸透しやすい化合物を指す。抗体医薬品には、診断や研究目的のものを含まない。タンパク質製剤には抗体医薬品を含まない。遺伝子治療にはex vivo, in vivo の遺伝子治療が含まれる。細胞治療には、細胞移植が含まれる。核酸医薬品にはRNA治療薬が含まれる。

2) 市場規模は、各医薬品における1年間の収益を指す。低分子医薬品の市場規模は2019年のものである。その他のモダリティの市場規模は2021年である

3) 低分子医薬品、タンパク質製剤、ペプチド医薬品の市場成長率は、2020年-2030年、抗体医薬品、核酸医薬品、遺伝子治療、細胞医薬品の市場成長率は2021年-2027年である
出所) Frost & Sullivan等よりNRI作成

2. 研究開発動向 (抗体医薬品の定義)

モノクローナル抗体の他、多数の次世代抗体がある。特に、ADCを代表とするコンジュゲート抗体は副作用の少なさと効果の高さから、特に研究開発が盛んであり承認数も多い

	概要	特徴	開発状況	
モノクローナル抗体	<ul style="list-style-type: none"> 単一の抗体産生細胞をクローニングして作られた抗体 	<ul style="list-style-type: none"> 抗原の1つのエピトープと反応する。マウス抗体、キメラ抗体、ヒト化抗体、完全ヒト抗体がある 	<ul style="list-style-type: none"> 上市実績多数 開発パイプライン多数 	
コンジュゲート抗体(ADC)	<ul style="list-style-type: none"> 抗体/ペプチドと低分子医薬をリンカーを介して結合した構造の複合体 	<ul style="list-style-type: none"> 抗体が標的の精密認識・デリバリー機能を担い、実質的な薬効(特に抗がん作用)は低分子医薬が担うことで、副作用が少なく効果の高い分子標的医薬品となる 	<ul style="list-style-type: none"> 上市実績多数 開発パイプライン多数 <p>承認数も多く、研究開発も盛ん</p>	
多重抗体	<ul style="list-style-type: none"> バイスペシフィック抗体は、2つの重鎖と2つの軽鎖から成り、左右の抗原結合部位で異なる抗原に結合できる 	<ul style="list-style-type: none"> 2種類の抗原の同時結合による薬効増強や、2種類の抗原をつなぐことによる薬効発現といった多様な薬効の発揮が期待できる 	<ul style="list-style-type: none"> 血友病関連で1品目上市(中外) 開発パイプライン複数 	
他	低分子化抗体(Fab化抗体)	<ul style="list-style-type: none"> 低分子化抗体は抗体のFabなど、一部分のみで構成される抗体 	<ul style="list-style-type: none"> 糖鎖修飾が必要なく、大腸菌で製造できるため、低コストなバイオ医薬品として注目されている 精製の標準法が未確立であり、汎用のイオン交換クロマトグラフィー担体や疎水性相互作用クロマトグラフィー担体などを適宜組み合わせ工程構築に多大な労力がかかる 	<ul style="list-style-type: none"> 数品目上市実績
	リサイクリング抗体	<ul style="list-style-type: none"> 1分子の抗体が繰り返し抗原に結合できるようにデザインされた抗体 酸性条件下で抗原から抗体が離れるように分子設計された抗体 	<ul style="list-style-type: none"> 一度抗原に結合した抗体から抗原がpH依存的に解離するため、抗原のみがライソソームに移行・分解され、抗体は何度も血液中の別の抗原に結合し、抗体の消失を低減する 血漿中から抗原を除去することができる 	<ul style="list-style-type: none"> アクテムラの改良として中外が国際共同治験実施中(対象疾患: 視神経脊髄炎)
	スィーピング抗体	<ul style="list-style-type: none"> リサイクリング抗体の進化版 抗原を分解する回転速度を加速 	<ul style="list-style-type: none"> 低い投与量や、長い投与間隔を実現できるうえ、大量に存在する抗原の阻害が可能 血漿中から抗原を除去することができる 	<ul style="list-style-type: none"> -

2. 研究開発動向 (核酸医薬品の定義)

パイプライン数が多いモダリティは、従来から開発が進められているアンチセンス、siRNAと、COVID-19をきっかけに開発が盛んになっているmRNAである

	核酸薬品の種類	構造	標的/作用	塩基長	上市製品
RNAに作用 ⇒核酸医薬品を用いる意義が大きい	アンチセンス	1本鎖 DNA/RNA	RNA/細胞内	13~30	9製品
	siRNA	2本鎖RNA	RNA/細胞内	20程度	4製品
	miRNA	2本鎖RNA	RNA/細胞内	20程度	—
タンパク質に作用 ⇒他モダリティでもアプローチ可能	デコイ	2本鎖DNA	タンパク質/細胞内	20程度	—
	アプタマー	1本鎖 DNA/RNA	タンパク質/細胞外	26~45	1製品
	CpGオリゴ	1本鎖 DNA	タンパク質/細胞外	20程度	1製品
その他	mRNA	タンパク質に翻訳され得る塩基配列情報と構造を持ったRNA	RNA/細胞内	数千程度	2製品

従来から開発されているモダリティ

コロナをきっかけに開発投資が進むモダリティ

2. 研究開発動向 (抗体医薬品のパイプライン数保有企業)

抗体医薬品は大手製薬企業が主なプレイヤーだが、研究開発が盛んなConjugateに絞ると、特に、外資系のベンチャー企業の存在感が増す

抗体医薬品全般の傾向として、日系・外資問わず大手製薬企業が多くのパイプラインを保有しているが、Conjugateに絞ると日系・外資系ともに大手製薬企業だけでなく、ベンチャー企業がパイプライン数上位企業に位置づく。この傾向は特に外資系企業において顕著である。大手製薬企業はベンチャー企業からライセンスインをしているケースも多く、一般的なモノクローナル抗体に比べてConjugateは、ベンチャー企業が革新的技術を持つ傾向があるといえる。しかしながら、日系のベンチャー企業は他のモダリティに比べて数が少なく、革新的技術を持つ企業も限定的である。

日系・外資系の企業・研究機関等の抗体医薬品保有パイプライン数の上位企業¹⁾

() 当モダリティの日系及び外資系それぞれの全パイプラインにおける割合

	日系企業TOP5	外資系企業TOP5
抗体医薬品 全体	Chugai Pharmaceutical(13.5%) 提携先：Roche (In)	Roche(2.3%) 提携先：Chugai Pharmaceutical (In) 等
	Ono Pharmaceutical(11.1%) 提携先：Bristol Myers Squibb (In) 等	Bristol Myers Squibb(2.3%) 提携先：Medarex (買収) 等
	Daiichi Sankyo(9.2%) 提携先：Amgen (In) 等	AstraZeneca(1.8%) 提携先：Amgen (In) 等
	Takeda(6.4%) 提携先：Seagen (In) 等	Novartis(1.8%) 提携先：AbbVie (In) 等
	Kyowa Kirin(5.7%) 提携先：Novartis (In) 等	Amgen(1.7%) 提携先：AbbVie (In) 等
Conjugate	Daiichi Sankyo(35.7%) 提携先：AstraZeneca (Out) 等	Seagen(2.9%) 提携先：Genmab (In) 等
	Rakuten Medical(14.3%) 提携先：Sorrento Therapeutics (不明)	Sorrento Therapeutics(1.9%) 提携先：City of Hope (不明)
	Astellas Pharma(12.2%) 提携先：Actinium Pharmaceuticals (In) 等	CytomX Therapeutics(1.8%) 提携先：ImmunoGen (不明)
	Takeda(11.2%) 提携先：Seagen (In) 等	AstraZeneca(1.7%) 提携先：Daiichi Sankyo (In) 等
	JCR Pharmaceuticals(4.1%) 提携先：ArmaGen (買収)	Gilead Sciences(1.5%) 提携先：Immunomedics (買収) 等

1) 提携先からのライセンス導入は「In」、ライセンス導出は「Out」、提携先の買収は「買収」、提携形態について出所に具体的な記載のないものは「不明」とした
出所) Evaluate Pharma「Antibody medicine WW pipeline & clinical trial data」(2022年12月出力)

2. 研究開発動向 (抗体医薬品のパイプライン数保有企業)

ケーススタディ：Seagenの開発戦略 (Tivdac 子宮頸がん)

TivdacのPh II 概要			TivdacのPh III 概要		
製品名	Tivdak		製品名	Tivdak	
臨床試験概要	スポンサー	Seagen Inc.	スポンサー	Seagen Inc.	
	共同スポンサー	<ul style="list-style-type: none"> Genmab European Network of Gynaecological Oncological Trial Groups (ENGOT) Belgian Gynaecological Oncology Group Gynecologic Oncology Group 	共同スポンサー	Genmab	
	臨床フェーズ	フェーズ2	臨床フェーズ	フェーズ3	
	試験開始日	2018年6月12日	試験開始日	2021年2月22日	
	試験完了日	2022年8月2日	試験完了日	2028年2月28日 (完了予定)	
	実施場所	欧米8か国53施設	実施場所	日本を含む26か国170施設 (日本からは国立がん研究センター中央病院、他27施設が参加)	
	参加人数	102人	参加人数	482人	
	概要	治療歴がある子宮頸がん患者における、Tivdac投与の安全性と有効性の試験	概要	再発・転移性の子宮頸がん患者における、Tivdac投与と化学療法の比較試験	
	出所)	ClinicalTrials.gov			

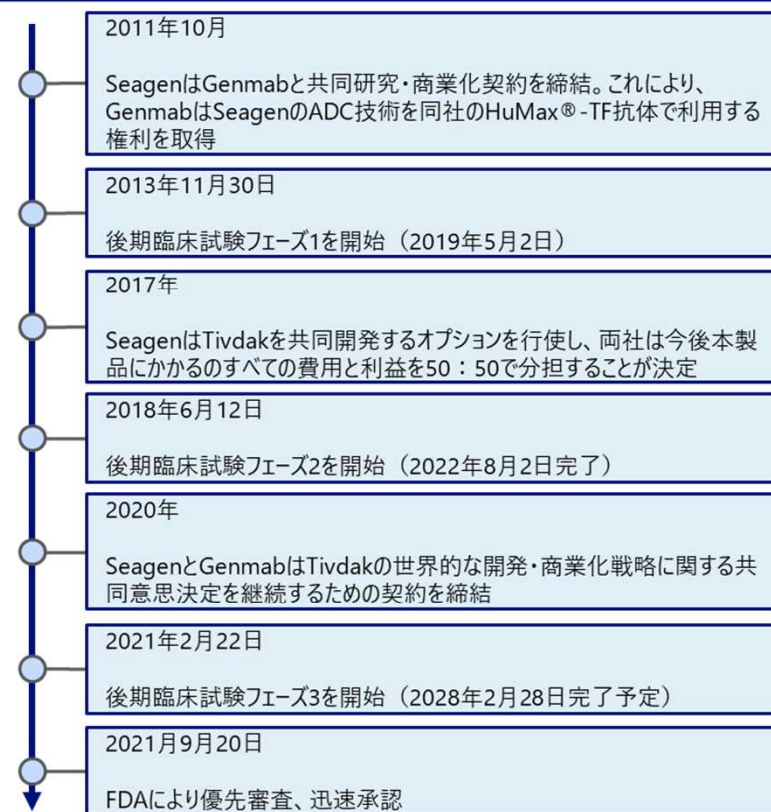
連携

- ✓ 前臨床段階でGenmab (ガンをターゲットに完全ヒト化抗体の開発に特化)と共同研究・商業化契約締結。

臨床開発

- ✓ SeagenとGenmabの共同スポンサーで治験を実施。費用と利益を50:50で分担。
- ✓ グローバルP2試験実施。
- ✓ 臨床入り後、8年弱で優先審査・迅速承認。

Tivdacの研究開発変遷



出所) Evaluate Pharma「Antibody medicine WW pipeline & clinical trial data」(2022年12月出力)、ClinicalTrials.gov、各種公開情報

2. 研究開発動向 (抗体医薬品のパイプライン数保有企業)

ケーススタディ：第一三共の開発戦略 (Enhertu 乳がん)

EnhertuのPh II 概要		EnhertuのPh III概要	
製品名	Enhertu	製品名	Enhertu
スポンサー	Daiichi Sankyo, Inc.	スポンサー	Daiichi Sankyo, Inc.
共同スポンサー	<ul style="list-style-type: none"> • Astra Zeneca • Daiichi Sankyo Co., Ltd. 	共同スポンサー	<ul style="list-style-type: none"> • Astra Zeneca • Daiichi Sankyo Co., Ltd.
臨床フェーズ	Phase II	臨床フェーズ	Phase III
試験開始日	2017年8月25日	試験開始日	2018年8月9日
試験完了日	2023年9月30日 (完了予定)	試験完了日	2023年4月 (完了予定)
実施場所	日本を含むアジア・欧米8か国99施設 (日本からは国立がん研究センター中央病院、他10施設が参加)	実施場所	日本を含むアジア・欧米15か国164施設 (日本からは国立国際医療研究センター病院、他16施設が参加)
参加人数	253人	参加人数	524
概要	T-DM1治療歴のある転移性乳がん患者を対象とした試験	概要	トラスツマブとタキサンの前治療歴を持つHER2陽性の切除不能および/または転移性乳がんに対するDS-8201aとT-DM1の比較

出所) ClinicalTrials.gov

連携

- ✓ 第一三共は、2008年7月から2015年6月にかけてSeattle Genetics, Inc.(現Seagen社)とADCの共同研究を実施。

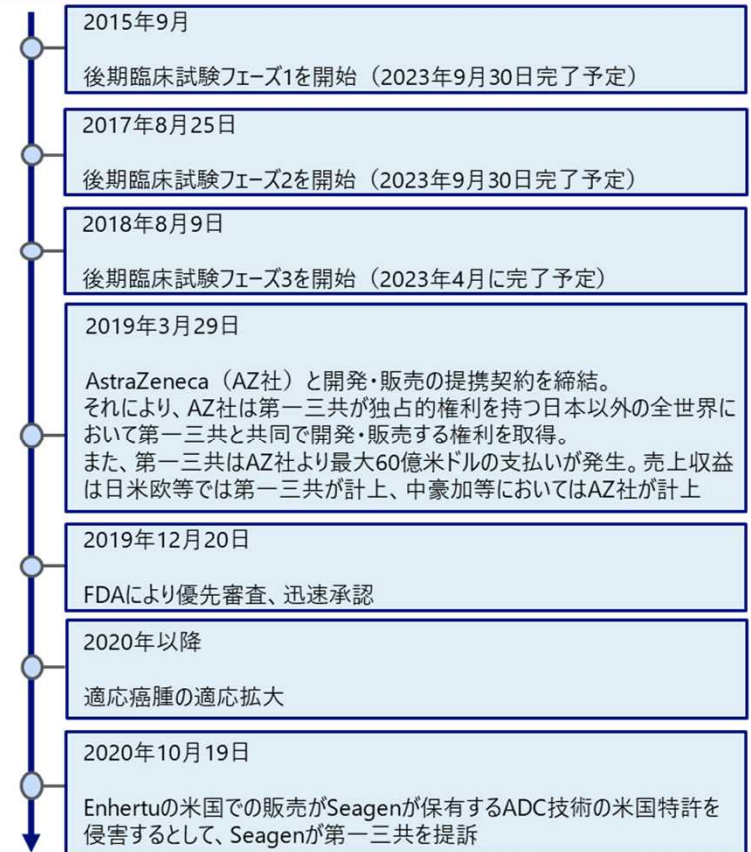
臨床開発

- ✓ 2015年に自社開発品エンハーツが臨床入り。
- ✓ Phase 2, 3はAstraZenecaとのグローバル共同治験。
- ✓ 臨床入り後、約4年で、優先審査・迅速承認。

知財

- ✓ ADC技術の米国特許を侵害するとして、Seagenが第一三共を提訴。一方、第一三共も同社を被告として確認訴訟を提起している。

Enhertuの研究開発変遷



出所) Evaluate Pharma「Antibody medicine WW pipeline & clinical trial data」(2022年12月出力)、ClinicalTrials.gov、各種公開情報

2. 研究開発動向 (核酸医薬品のパイプライン数保有企業)

日系は大手が、外資系はベンチャーのパイプライン数が多い。日系大手は外資系ベンチャーからライセンスインしているケースもあり、外資系ベンチャーの存在感が大きい領域といえる

核酸医薬品全般の傾向として、日系企業は大手製薬企業、外資系企業はベンチャー企業の存在感が大きい。ただし、日系の大手製薬企業はベンチャー企業から複数のパイプラインをライセンスインしており、日系・外資系によらず世界的に核酸医薬品のシーズは、ベンチャー企業が保有している割合が大きいと推測される。「Antisense」、「siRNA」、「mRNA」のモダリティ別にみると、日系においてもパイプライン数上位におけるベンチャー企業の割合が大きくなる。

日系・外資系の企業・研究機関等の核酸医薬品保有パイプライン数の上位企業¹⁾

() 当モダリティの日系及び外資系それぞれの全パイプラインにおける割合

	日系企業TOP5	外資系企業TOP5
核酸医薬品全体	Takeda(15.6%) 提携先：Moderna (In) 等	Ionis Pharmaceuticals(5.4%) 提携先：Akcea Therapeutics (買収) 等
	SBI Holdings(14.2%) 提携先：Quark Pharmaceuticals (買収) 等	Moderna(2.5%) 提携先：なし
	AnGes(7.8%) 提携先：Osaka University (In)	Inovio Pharmaceuticals(2.3%) 提携先：VGX Pharmaceuticals (買収) 等
	TAGCyx Biotechnologies(7.8%) 提携先：SBI Holdings (JV)	Alnylam Pharmaceuticals(2.1%) 提携先：PeptiDream (In) 等
	Daiichi Sankyo(5.7%) 提携先：The University of Tokyo (JV)	AstraZeneca(1.9%) 提携先：Ionis Pharmaceuticals (In) 等
Antisense、siRNA、mRNA	Takeda (23.9%) 提携先：Moderna (In) 等	Ionis Pharmaceuticals(9.9%) 提携先：Akcea Therapeutics (買収) 等
	SBI Holdings ²⁾ (21.6%) 提携先：Quark Pharmaceuticals (買収)	Moderna(4.6%) 提携先：なし
	Daiichi Sankyo(9.1%) 提携先：The University of Tokyo (JV)	Alnylam Pharmaceuticals(2.8%) 提携先：PeptiDream (In) 等
	Nitto Denko(8.0%) 提携先：Sapporo Medical University (In)	Skyhawk Therapeutics(2.7) 提携先：なし
	Astellas Pharma(5.7%) 提携先：Audentes Therapeutics (買収)	AstraZeneca(2.6%) 提携先：Ionis Pharmaceuticals (In) 等

1) 提携先からのライセンス導入は「In」、ライセンス導出は「Out」、提携先の買収は「買収」、提携先とのジョイントベンチャー設立は「JV」、提携形態について出所に具体的な記載のないものは「不明」とした

2) SBI HDは2022年に傘下の企業を売却しており2023年現在、PL数は本データ出力時点より少ない 出所) Evaluate Pharma, 「Nucleic acid medicine pipeline research」(2022年2月5日出版) reserved.

2. 研究開発動向 (核酸医薬品のパイプライン数保有企業)

ケーススタディ：Ionisの開発戦略 (Spinraza 脊髄性筋萎縮症)

SpinrazaのPhase II概要

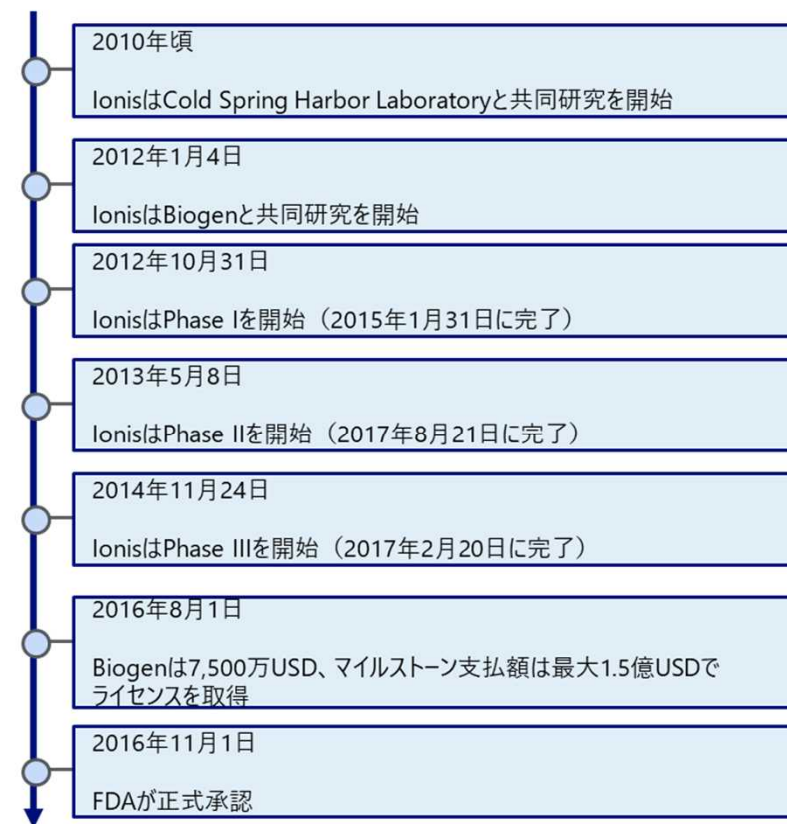
製品名	Spinraza	
スポンサー	Ionis Pharmaceuticals→Biogen	
共同スポンサー	なし	
臨床フェーズ	Phase II	
試験開始日	2013年5月8日	
試験完了日	2017年8月21日	
実施場所	アメリカ(3州3医療機関)、カナダ	
参加人数	21人	
概要	脊髄性筋萎縮症 (SMA) の乳児におけるヌシネルセン(ISIS 396443)の有効性、安全性、および薬物動態を評価するための研究	

SpinrazaのPhase III概要

製品名	Spinraza	
スポンサー	Ionis Pharmaceuticals→Biogen	
共同スポンサー	なし	
臨床フェーズ	Phase III	
試験開始日	2014年11月24日	
試験完了日	2017年2月20日	
実施場所	カナダ、フランス、ドイツ、香港、イタリア、日本(兵庫医科大、東京女子医大)、韓国、スペイン、スウェーデン、アメリカ	
参加人数	126人	
概要	遅発性脊髄性筋萎縮症 (SMA) の参加者におけるヌシネルセン (ISIS 396443) の有効性と安全性を評価する研究	

出所) ClinicalTrials.gov

Spinrazaの研究開発変遷



連携

- ✓ 臨床入り前からBiogenと共同研究。

臨床開発

- ✓ Ionis自身が治験実施。
- ✓ Phase 2はUSで21人。Phase 2の途中からPhase 3が開始されている。臨床入りから約4年で、承認。

知財

- ✓ Phase 2/3の途中で、Biogenがライセンス取得。

出所) Evaluate Pharma, 「Nucleic acid medicine WW pipeline data」(2022年2月15日出力)、ClinicalTrials.gov、各種公開情報

2. 研究開発動向 (核酸医薬品のパイプライン数保有企業)

ケーススタディ：日本新薬の開発戦略 (Viltepso デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

ViltepsoのPhase II概要			ViltepsoのPhase III概要		
製品名	Viltepso		製品名	Viltepso	
スポンサー	NS ファーマ (米国子会社)		スポンサー	NS ファーマ (米国子会社)	
共同スポンサー	<ul style="list-style-type: none"> ・日本新薬 ・CINRG (神経筋疾患コンソーシアム) ・TRiNDS (神経筋疾患および希少疾患における臨床試験実施専門のCRO) 		共同スポンサー	<ul style="list-style-type: none"> ・日本新薬 	
臨床フェーズ	Phase II		臨床フェーズ	Phase III	
試験開始日	2016年12月		試験開始日	2020年4月14日	
試験完了日	2018年4月		試験完了日	2024年12月 (完了予定)	
実施場所	アメリカ(6州6医療機関)、カナダ(1医療機関)		実施場所	アメリカ、オーストラリア、カナダ、チリ、ギリシア、香港、イタリア、日本 (兵庫医科大、熊本大、国立精神・神経医療研究センター)、韓国、メキシコ、オランダ、ニュージーランド、ノルウェー、ロシア、スペイン、トルコ、ウクライナ、英国	
参加人数	16人		参加人数	74人	
概要	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) におけるNS-065 /NCNP-01の安全性と用量設定研究		概要	DMD の外来通院中の男児におけるビルトルセンの有効性と安全性を評価するための研究 (RACER53)	

出所) ClinicalTrials.gov

連携

✓ NCNPと日本新薬が前臨床段階から共同研究。

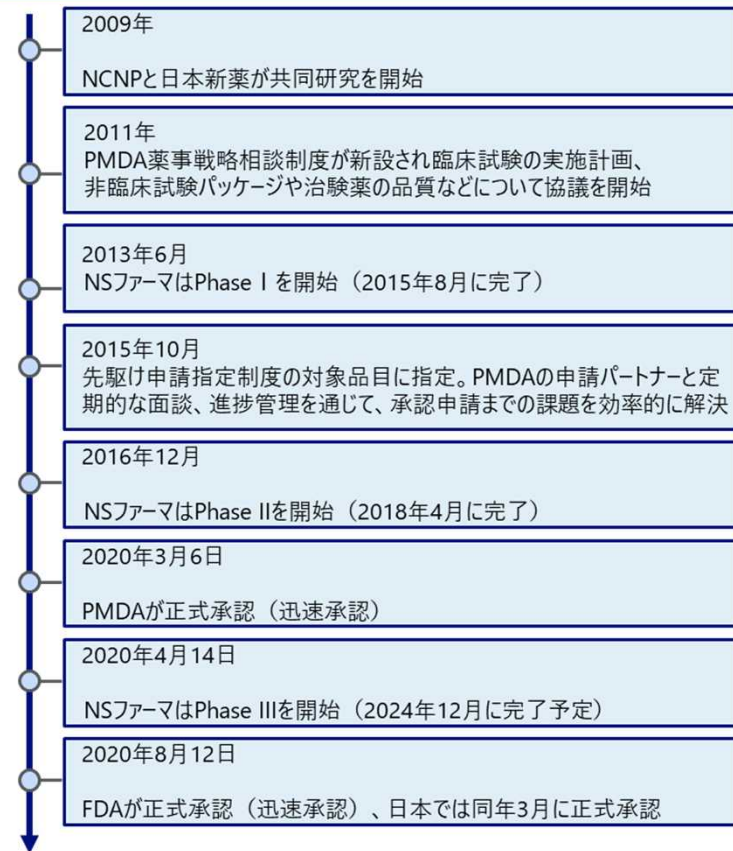
臨床開発

- ✓ 日本新薬が治験実施。USでPhase 2 (16人)
- ✓ PMDAと相談して約7年で、迅速承認。
- ✓ Phase 2の結果で承認。
- ✓ その後、国際共同Phase3試験を実施。

知財

✓ NCNPとの共同出願

Viltepsoの研究開発変遷



出所) Evaluate Pharma, 「Nucleic acid medicine WW pipeline data」(2022年2月15日出力)、ClinicalTrials.gov、各種公開情報

2. 研究開発動向 (国内創薬基盤)

抗体は、国内に上市済み医薬品を持つ企業やCDMOが多数存在し、医薬品創薬の基盤が整っている。
核酸は上市品を持つ企業やCDMOが限られており、抗体に比べて創薬基盤は盤石ではない

抗体医薬品は、国内大手製薬企業を中心に複数の上市品があり、国内のCDMOも多数存在し医薬品創薬の基盤が整っているといえる。しかし、革新的技術を持つアカデミア、ベンチャー・スタートアップの数は核酸医薬品等の新規モダリティに比べて少ない特徴がある。一方、核酸医薬品は、上市品を持つ企業やCDMOが限定的で、抗体医薬品に比べて創薬基盤は盤石ではないが、革新的技術を持つアカデミア、ベンチャー・スタートアップは多数存在する。

各モダリティ創薬基盤の現状

	抗体	核酸
1 アカデミア ベンチャー・ スタートアップ	<ul style="list-style-type: none">がん領域に注力するプレイヤーが抗体医薬の研究開発を実施抗体医薬において革新的技術の研究をするプレイヤーは多くない	<ul style="list-style-type: none">革新的技術を持つアカデミア、ベンチャー・スタートアップは複数存在し、その技術は多岐にわたる一方で、自社で医薬品シーズを開発し創薬に挑む企業は多くない
2 製薬企業	<ul style="list-style-type: none">多数の企業が抗体医薬のパイプラインを保有している上市済み医薬品を持つ企業も多い	<ul style="list-style-type: none">抗体に比べてパイプラインを保有する企業は限定的上市済み医薬品を持つのは日本新薬のみ
3 CDMO	<ul style="list-style-type: none">CDMOは多数存在	<ul style="list-style-type: none">原薬製造に関しては、複数企業が存在ただし、製剤化までを担える企業は限られる
4 その他	<ul style="list-style-type: none">CRO、CSOなどの企業は多数存在	

【抗体】

国内外の大手製薬企業が抗体医薬品に対して大規模な投資をしている状況。国内のアカデミア・ベンチャーはグローバルでの開発経験が豊富な国内外の大手製薬企業と早期に連携し、国内発のシーズを円滑に橋渡しして、開発競争に乗り遅れないよう支援をすることが肝要

【核酸】

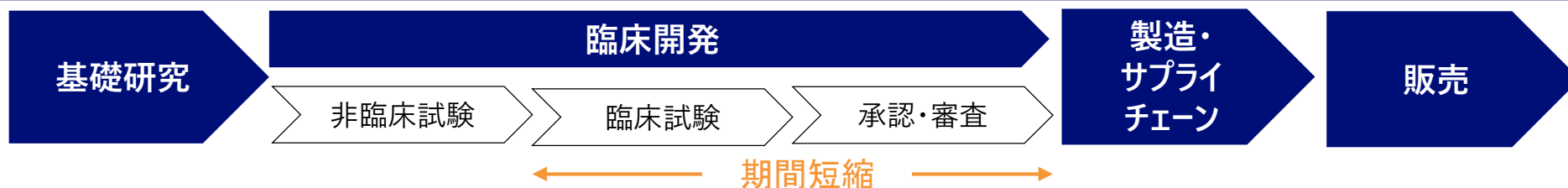
日本では、抗体と異なり、上市経験のある企業やCDMOが限定的であり、アカデミア・ベンチャー発のシーズを出口（上市）まで繋ぐ創薬基盤が整っていないことが課題。アカデミア・ベンチャー、CDMO、臨床治験サイトが協働して研究開発を進め、開発後期の企業に繋げる仕組みが必要

2. 研究開発動向 (臨床試験における工夫点)

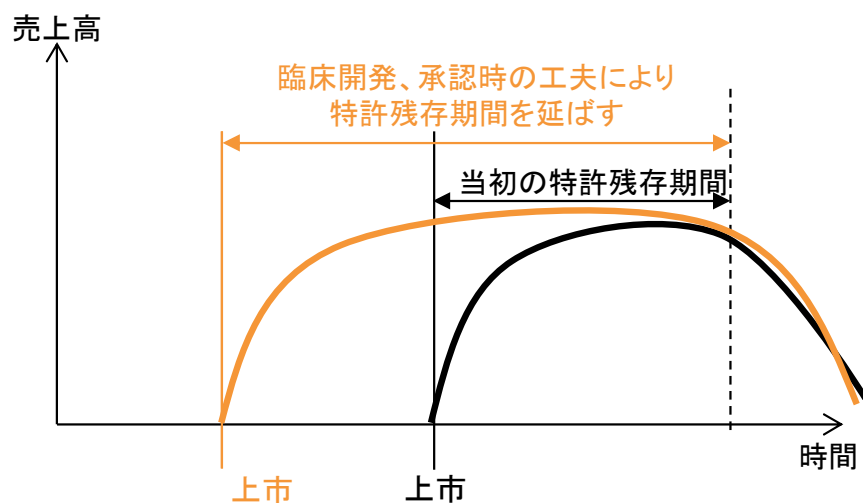
日系、外資系によらず、またモダリティによらず、各社は早期に承認を得る工夫を行い、特許の残存期間延長による収益最大化を図っている

フェーズの短縮化や迅速承認制度を使用するなど試験期間の短縮のための工夫が見られた。試験期間を短縮し、特許残存期間を延ばすことで収益の最大化を図ることの重要性が高いことがわかる。

臨床試験における各企業の工夫のポイント



臨床開発期間短縮の利点



企業事例

早期に承認を得る工夫	企業事例
Phase IIIを早期に開始	<ul style="list-style-type: none"> • 楽天メディカルのAkaluxは、Phase I とPhase II を同時に実施 • AstraZenecaのLumoxitiはPhase I の後にPhase IIIに移行
早期承認制度を利用して、Phase IIIを終了する前に承認	<ul style="list-style-type: none"> • 第一三共のEnhertu、武田薬品のAdcetris、SeagenのTivdak、AstraZenecaのLumoxitiはFDAの優先審査、迅速承認制度を活用 • 楽天メディカルのAkaluxはPMDAにより先駆け審査対象品目に指定されたのち、条件付き早期承認制度のもとPMDAより承認 • 日本新薬のViltepsoの臨床試験では、PMDAの薬事戦略相談制度や先駆け申請指定制度への適用がみられ、Phase IIIの開始を待たずして、PMDAより迅速承認されるとともにPhase III終了前にFDAより迅速承認 • IonisのSpiranzaやModernaのCOVID-19 Vaccine、SareptaのExondysもPhase IIIの終了前に承認。ModrnaのCOVID-19 Vaccineについては、FDAによる緊急使用許可を取得

3. バリューチェーンの特徴と課題 (我が国の抗体・核酸医薬品のバリューチェーンの特徴と課題 まとめ)

バリューチェーンの課題をまとめると、国内発の医薬品シーズを上市に繋げるにあたっての喫緊の課題は①事業化を見据えた研究開発、②出口戦略、③投資呼び込みである

公開情報調査（文献調査、先行の類似調査結果、特許取得事例情報）および有識者へのヒアリング（内資大手製薬企業、外資大手製薬企業、国内ベンチャーキャピタル、国内アカデミア研究者、海外政府機関関係者）を基に調査した。

バリューチェーンの課題を総括すると、国内発の医薬品シーズを上市に繋げるにあたって、喫緊の課題は、①事業化を見据えた研究開発、②出口戦略、③投資呼び込みであり、抗体、核酸などモダリティにより、重要性の大小は異なるものの、どれも共通的な課題となっている。

課題の内容



①事業化

ビジネスプラン策定
知財戦略立案
治験設計

•国内のアカデミア・ベンチャーは、事業開発人材（経営・マーケティング人材）が不足しており、アカデミア側で薬としての活用イメージ、ビジネス展開への理解が十分でなく、データの質・内容・信頼性の認識が製薬企業と一致せず、交渉が進展しないことがある。加えて、アカデミア・ベンチャーはビジネス観点での知財戦略立案に課題があり、事業化において重要な第一号特許の作り込みや国際出願の戦略が練れていないケースがある。



②出口戦略

国内の連携強化
海外の連携強化

•国内のアカデミア・ベンチャーは、シーズを出口に繋げるにあたり相談相手が限定的である。国内の大手製薬企業とは定期的な意見交換ができていますが、国内中堅の製薬企業・CDMOや海外のステークホルダー（政府、規制当局、製薬企業、CDMO、CRO、ベンチャーキャピタル等）との接点が乏しく、海外のアカデミア・ベンチャーと比べて事業機会は非常に限られたものになっている。



③投資の呼び込み

資金、設備

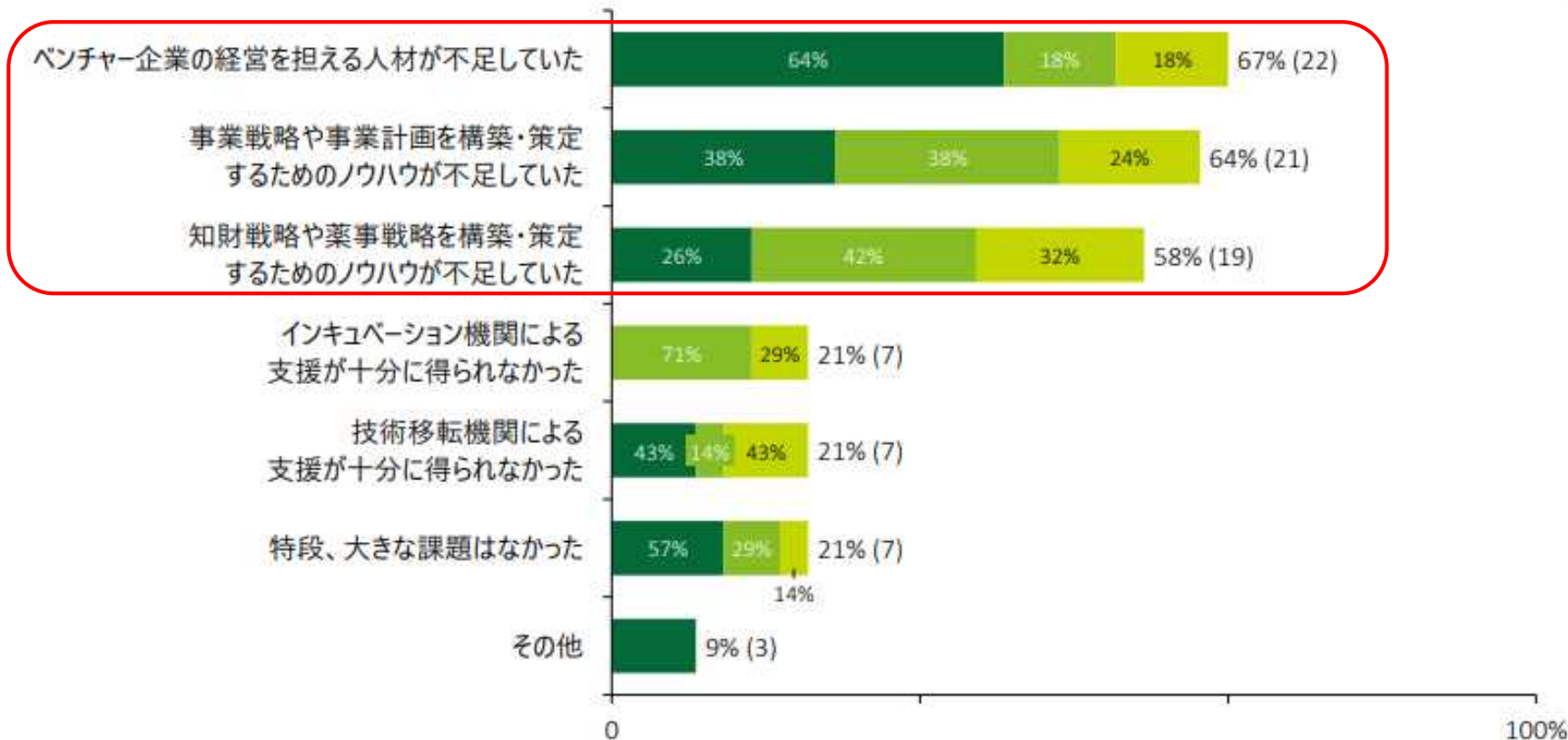
•国内のアカデミア・ベンチャーの資金調達方法の1つとして、国内の支援の幅を広げるほか、海外マネーの呼び込みを行うことが考えられる。国内の大学発ベンチャーの99%が国内資金に依存する状況であるが、VCの投資額は日本と米国で2桁以上の差がある。
※VC投資額の増大に向けた取組は実施中

3. バリューチェーンの特徴と課題 (事業化)

ソフト面では人材不足、事業・知財・薬事戦略構築のノウハウ不足が課題

バイオベンチャー シード・アーリーフェーズにおける事業活動の課題

N=33



楽天メディカル
OB

- アカデミアは論文、企業は商業化期間を重要視している。特許の取り方で他社排他性が変わること理解していないなど、アカデミア側のビジネス意識の不足により事業化が難しくなる。



VC

- スタートアップには全体的に人材は足りない。特に事業開発人材、CRO選定が出来る人材、薬事プロセスが分かる人材が居ない。
- VCが特許戦略をフルにやるのは難しい。TLOあるいはベンチャー側に特許の分かる人材が居るのが望ましい。

3. バリューチェーンの特徴と課題（事業化）

3 薬剤のケーススタディより、特許戦略における重要な3つの視点を導出した

抗体医薬品、核酸医薬品の上市品における出願・審査中・登録特許を調査したところ、第一号特許の重要性やエリアに応じた特許取得方法の違いが明らかになった。後の分割出願を見越して最初に広範囲の基礎出願を行うことや、米国では治療法についての特許出願を行うことを視野に入れて研究開発を進めるべきである。また、アカデミアは、日本新薬と国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センターのビルテプソの例のように、製薬企業と国際共同出願を行うことで、最大限技術の権利化を目指すことが肝要である。

特許戦略において重要な視点（3 ケーススタディより）

第一号特許の作り込み

- 後の分割出願を見越して最初に広範囲の基礎出願を行っている。（楽天メディカルアキラルックス、第一三共エンハーツ、日本新薬ビルトラルセンのケーススタディより）

エリアに応じた特許出願

- 米国は、日本とは異なり人体に対する医療行為が特許として認められているため、米国申請の直前には、治療法や静脈投与方法についての特許を出願している。（第一三共エンハーツ、日本新薬ビルトラルセンのケーススタディより）

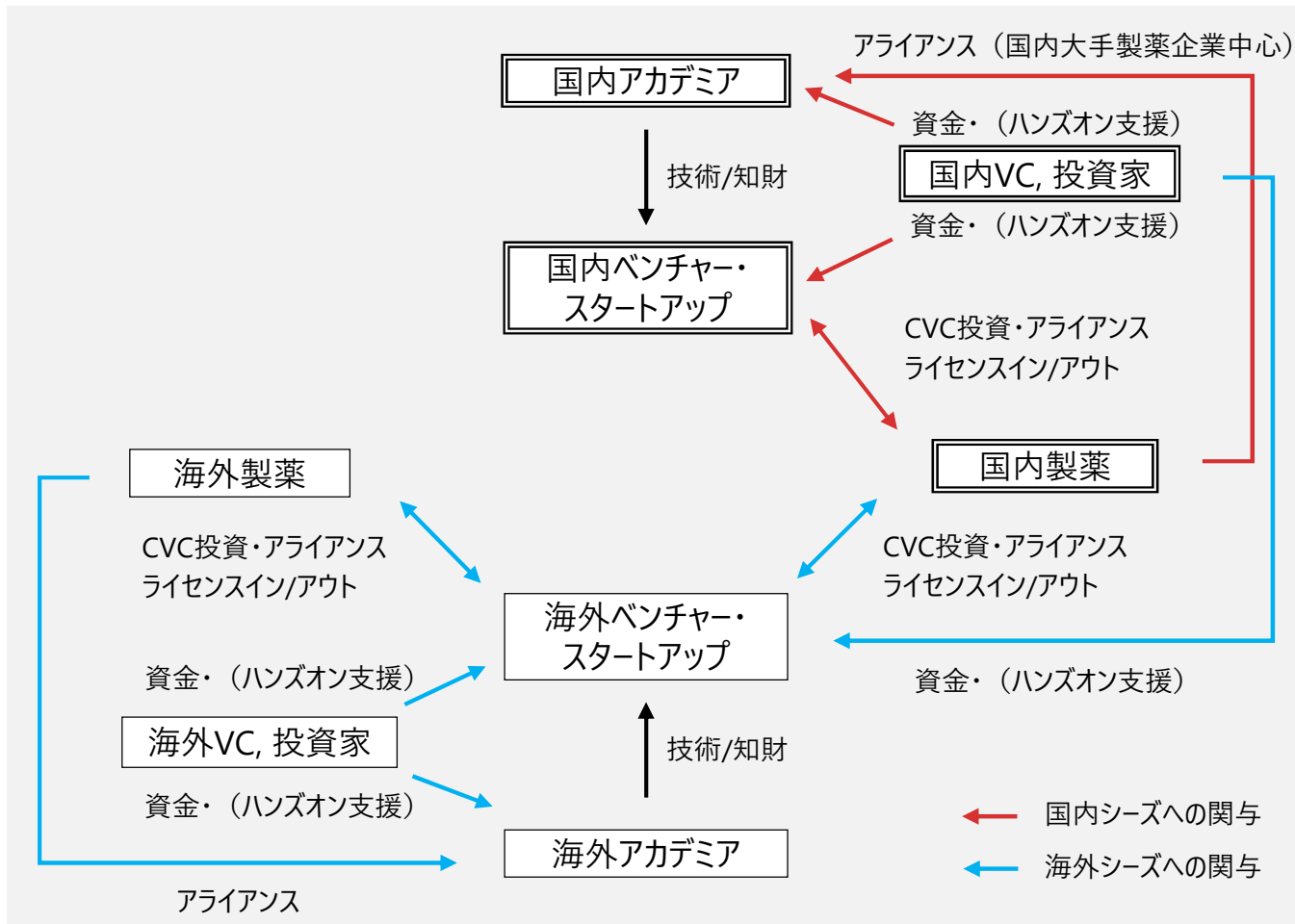
製薬企業との共同出願

- ビルトラルセンに関する日本の出願・審査中・登録特許は10件であるが、いずれの特許も日本新薬と国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センターの共同出願であり、1件の基礎出願から派生した分割出願となっている。主な外国の登録特許は、米国12件、欧州3件であり、こちらも日本新薬と国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センターの共同出願である。（日本新薬ビルトラルセンのケーススタディより）

3. バリューチェーンの特徴と課題 (出口戦略、投資の呼び込み)

国内のアカデミア・ベンチャーは、連携できている企業が限定的（国内大手製薬企業中心）で、国内の中堅企業、海外製薬企業との接点が乏しく事業機会が限られる。

アカデミア・ベンチャー・スタートアップを取り巻く環境



- 企業との接触機会はほぼ展示会のみだが、展示会には大企業しかいない。各国のローカルな中小企業にはアプローチできていない。
- 製薬企業の日本オフィスとの連携はあるが、海外企業との直接のコミュニケーションは少ない。
- 非臨床・安全性試験はアカデミアで行っている。フルで試験するのはお金がかかるので、現状ではミニマムしかできていない。試験が十分なのか、疑問がある。
- 製薬企業とは研究者個別でやりとりがあるが、VCとはやり取りは無い。スタートアップの中でも事業化がうまくいっているところしか投資しない印象。



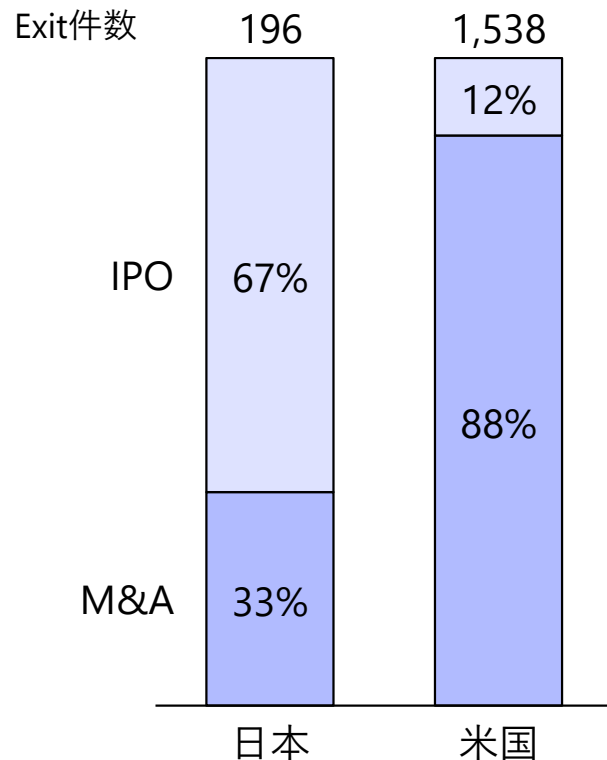
- 日本ではシーズ所持者の企業へのアプローチが極めて弱い。欧米にシステムティックに売り込むフローがない。

出所) 岩崎, "企業創薬とアカデミア創薬の現状と展望", Jpn Clin Pharmacol Ther 2016; 47(2):77-84、有識者インタビューよりNRI作成

3. バリューチェーンの特徴と課題 (出口戦略)

米国ではM&Aが約9割を占めており一方、日本ではIPOが主流であり、M&Aは少ない状況

日本・米国のスタートアップの出口傾向 (2021年)



出所) ベンチャーエンタープライズセンター「ベンチャー白書 2022」を基にNRI作成
※バイオ系に限らないことに留意

日本のスタートアップにM&Aが少ない要因

外部要因

- 海外マーケットへのPR不足
- ベンチャーへの資金流入額不足およびそれによる成長の鈍化

内部要因

- 言語の壁
- ビジネス戦略の不足(R&D, 知財, 薬事, etc.)



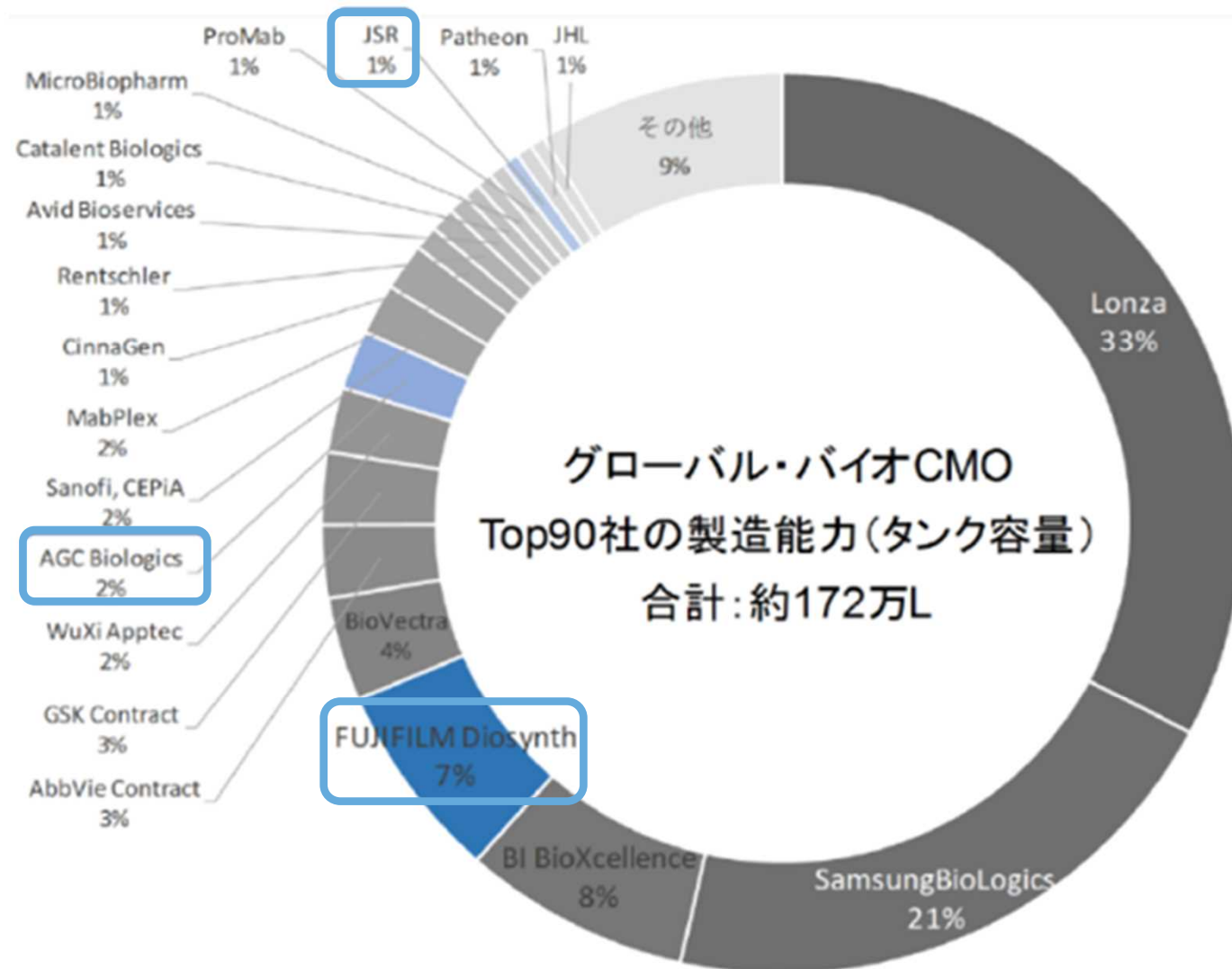
VC

- バイオベンチャーでも同様の状況。
- 海外企業からすると、日本のベンチャーをコストを掛けて取りに行く旨味がないのでは。

出所) 有識者インタビューよりNRI作成

3. バリューチェーンの特徴と課題 (出口戦略)

グローバルにおける日本のCMOの存在感は、上位90社の製造規模で見ると約1割程度であり、国内に十分な製造規模を確保できているとは言えない



アカデミア

- 小ロットの治験薬を製造してくれる機関がない。核酸が一番不足しているが、抗体に関してもやはり不足している。



製薬企業

- 国内にCDMOが少ない。海外含めてもよいCDMOは限られており、困り込まれていることもある。

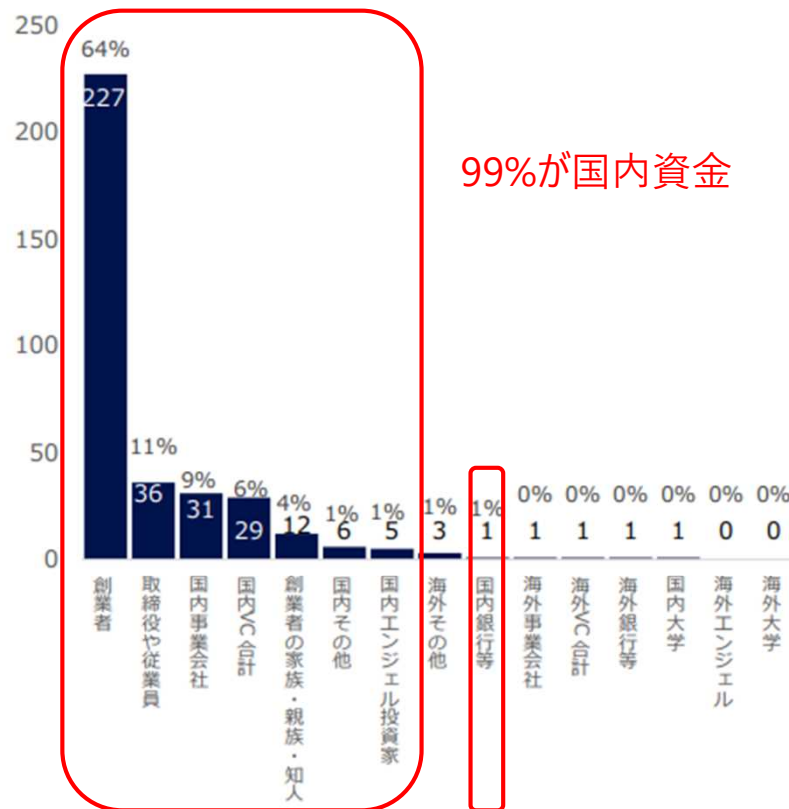
出所) みずほ証券株式会社「異業種大手が目指すバイオ Part1」(2019年12月)

3. バリューチェーンの特徴と課題 (投資の呼び込み)

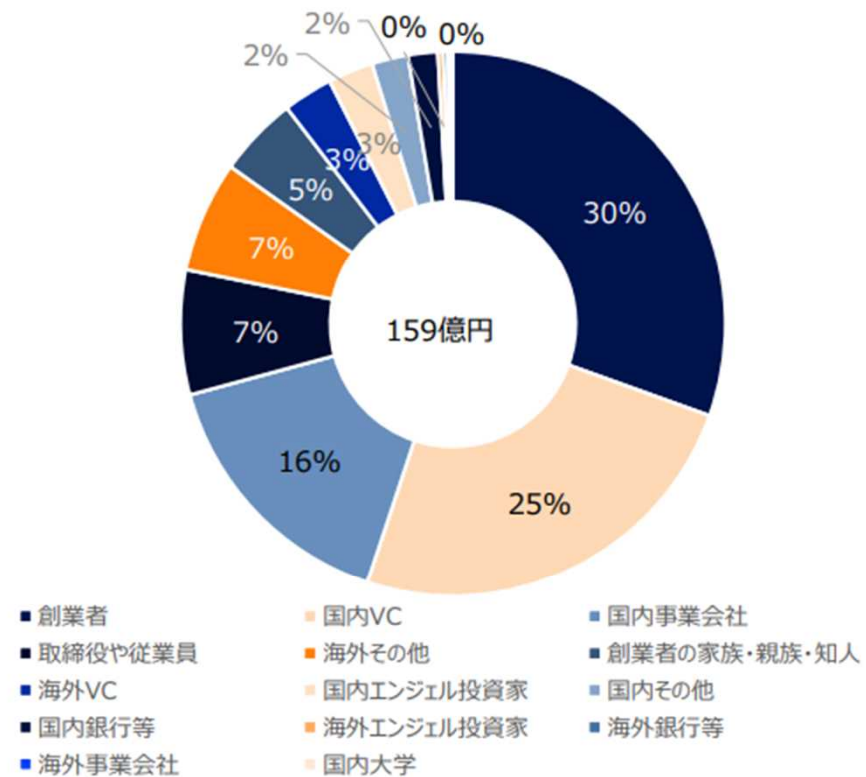
大学発ベンチャーの資金調達先は国内が99%を占め、海外資金が調達できていない

大学発ベンチャーの資金調達先

最大出資者 (n=354)



出資額比率(n=305)



※出資比率の合計が100%にならない回答に対しては、昨年度同様、記載された数値における最大値を占める出資者を最大出資者とカウントした。同値の場合は双方を最大出資者とした。

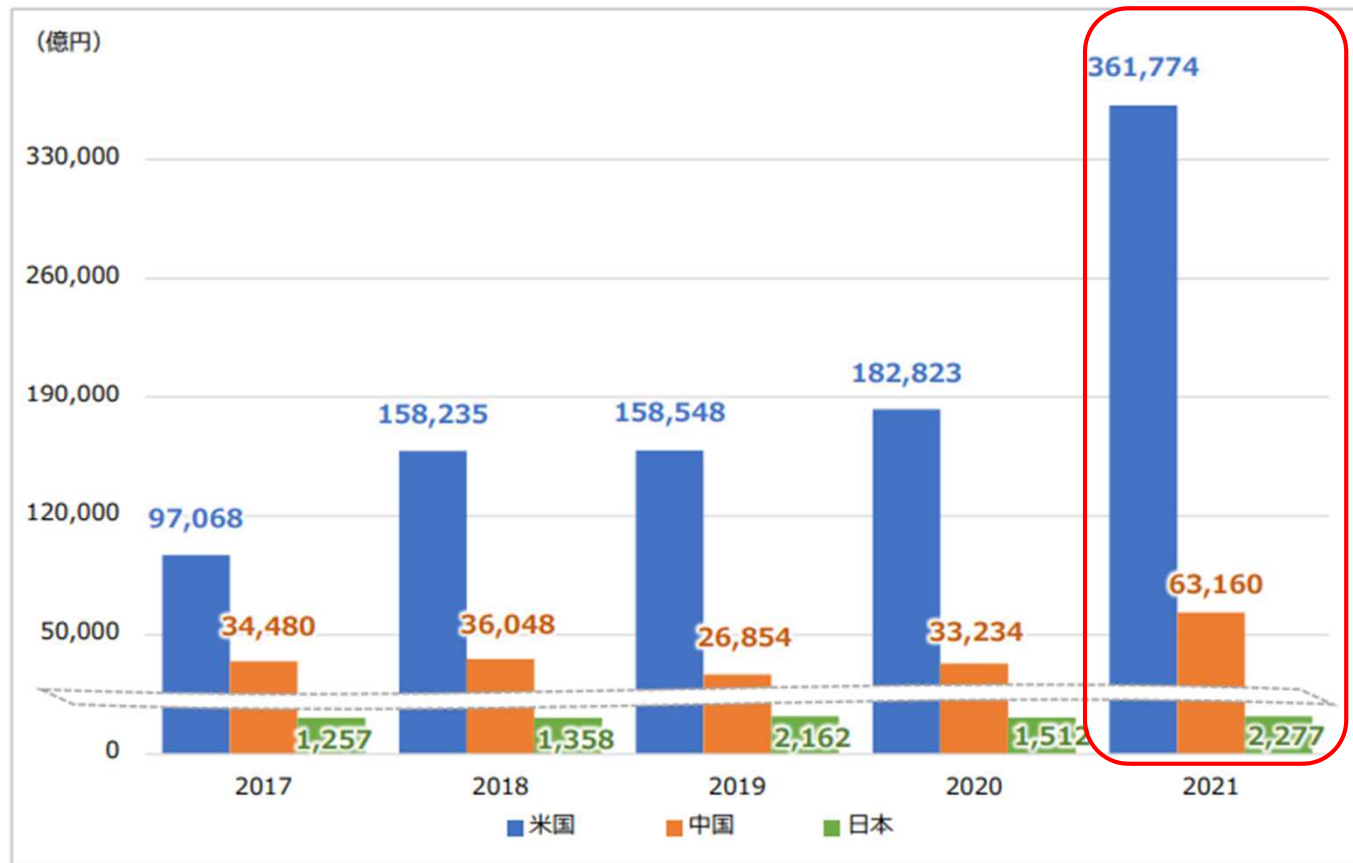
※出資比率の合計が100%となる回答のみに絞って集計した。

3. バリューチェーンの特徴と課題 (投資の呼び込み)

日本VCの投資額は米国・中国VCと桁違いで劣後している

2021年の国内VC投資額 (米・中・日)

図表 14 国内 VC 投資金額の 3 か国比較 (円換算)



日本・米国間のVC投資額に
2桁以上の差。

国内ベンチャーが十分量の
資金を調達するには、
海外マネーの呼び込みが不可欠

※2021年の平均レートで換算

4. 今後の展望 (あるべき姿と現状の支援状況)

これまでAMEDはハブ的機能を果たし、人材や知識・ノウハウといった情報の提供・連携を促進してきた。あるべき姿を実現するためには、実効性の強化が求められる

AMEDは、これまでに各種プロジェクトにおいて、事業開発人材の紹介、知財に関する相談窓口設置・教材提供、国内の産学官の連携、認定VC制度など、上述した課題解決に寄与する施策を講じてきた。人材や企業の紹介や情報提供など、人、企業、情報のハブ的な役割を果たすことが多く、支援内容もそのような施策が中心であった。このような支援活動により、アカデミア、ベンチャー・スタートアップの多くが、必要な情報を「知る」ことができるようになった。今後の課題は、国内シーズを基にした創薬の実行性を強化することにある。

あるべき姿と現状

支援の方向性



① 事業化

ビジネスプラン策定
知財戦略立案
治験設計

- あるべき姿は、ベンチャー・スタートアップの初期段階から経営人材、マーケティング・営業人材が関与しており、研究開発の初期段階でビジネス面を考慮した研究開発が行えるよう支援することである。加えて、アカデミア・ベンチャー・スタートアップが上市やライセンスイン/アウトを見据えた特許戦略を立てるためのノウハウの共有や実行支援を行うこと。さらに、ベンチャー・スタートアップが治験内容を理解しCROのマネージを行うためのノウハウの共有や実行支援を行うことである。
- これに対し、現状は、人材紹介や座学の人材育成支援を実施している。

- 確実な創薬推進に向け、実行支援型のアプローチを組み合わせることなどが考えられる。例えば、OJTでの人材育成や、ハイスキル人材獲得のための優遇制度など。また、資金支援応募条件、中間評価、成果の定義の見直しの余地もある。



② 出口戦略

国内の連携強化
海外の連携強化

- あるべき姿は、アカデミア、ベンチャー・スタートアップがライセンス供与・M&Aにより国内外を問わずシーズ導出する機会の提供や支援を行うことである。
- 現状は、国内における産学官連携支援が主であり、産学連携においては大手製薬企業との交流が中心となっている。

- 海外の産学官臨の連携の支援を充実させるとともに、これまでアカデミア、ベンチャー・スタートアップとの接点が乏しかった中堅企業との接点構築を進めるべき。



③ 投資の呼び込み

資金、設備

- あるべき姿は、国内外の幅広いステークホルダーからアカデミア、ベンチャー・スタートアップが投資を受ける機会の提供や支援を行うとともに、我が国として注力すべき技術領域の設定と集中投資を行うことである。
- 現状、我が国はスタートアップ関連の補正予算が約1兆円用意されることとなり、AMEDは3,500億円規模で創薬に特化したハンズオンによる事業化サポートを行うベンチャーキャピタルを認定し、その認定VCが出資する創薬ベンチャーが実施する実用化開発の支援を実施している。日本に加え海外市場での事業化を行う計画についても支援対象としている。

- 創薬ベンチャーへ出資するVCの数と規模の拡大を実現する施策が必要である。

4. 今後の展望 (AMEDの支援の方向性)

課題（事業化、出口戦略、投資の呼び込み）に対するAMEDの支援の方向性として8つの仮説を立案した

- 今後の課題は、国内シーズを基にした創薬の実行性を強化することにある。実行支援の方向性としては、ビジネス観点での専門家人材の利活用やビジネス関連業務のハンズオン支援拡大、TLOなど重要業務を担う人材の経験値の向上に資する施策などである。その他、当該領域への資本の呼び込みや資金使途の柔軟性向上も検討の余地がある。
- 課題（事業化、出口戦略、投資の呼び込み）に対するAMEDの支援の方向性として8つの仮説を立案した（詳細は次頁以降）。

支援項目	課題	課題に対する解決の方向性	取りうる施策仮説
事業化	ビジネスプラン策定	事業化機能強化支援 (経営・事業開発人材の獲得、育成)	(1) 現行支援の強化・認知向上
	知財戦略	TLO機能強化支援 (人材獲得、育成)	(2) 先進TLOの機能強化
		第一号特許の作り込み促進	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	治験設計	治験推進機能強化 (CROマネジメント人材獲得、育成)	(4) 認定VC制度の活用
		非臨床試験、臨床試験用の医薬品製造	(5) 医薬品開発段階の助成対象や助成金使途の柔軟性向上
出口戦略	国内	国内の産学官臨の連携支援	(6) 国内の中堅製薬企業、CDMOとの連携促進
	海外	海外の産学官臨の連携支援	(7) 海外ステークホルダーとの連携促進
	資金	バイオ系VCの母数の増加	(4) 認定VC制度の活用
		投資テーマ・投資先配分の再設定	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
投資呼び込み	設備	ウェットラボ利用機会の増加	(8) 産学連携ラボの拡充、シェア型ウェットラボの利用促進

4. 今後の展望 (AMEDの支援の方向性)

事業化・出口戦略・投資呼び込みの課題に対する支援の方向性 (1) ~ (3)

取りうる施策仮説	内容
(1) 現行支援の強化・認知の向上	AMEDの現行の支援である事業開発人材の紹介、知財戦略立案のための人材紹介、認定VC制度等は、支援の枠組みができていますが、広く認知されておらず最大限活用されていないケースもある。そのため、現行支援制度を必要なプレイヤーに広く活用されるため、アカデミア・ベンチャー・スタートアップ・ベンチャーキャピタル等の制度対象者および制度対象者に関わる関係者に対し、説明会・セミナー等の実施、ウェブサイト等のオンラインプラットフォームを通じた情報提供を行い、AMEDの支援制度を周知する。本取組みは、アカデミア・ベンチャー・スタートアップの研究・シーズ技術の知財化の促進、シーズ・ニーズのマッチング実現、商談会への参加機会獲得などの成果に繋がると期待される。
(2) 先進TLOの機能強化	AMEDはこれまでに橋渡し研究戦略的推進プログラムにて大学TLOとの連携強化等を行い、アカデミアの知財部門の基本的な機能整備を支援してきた。次の施策として、TLO人材の能力・経験の平準化および産業応用人材の強化を行う。事業化において重要な第一号特許の作り込みや国際出願の戦略が立てられることなどビジネス観点での知財戦略立案を担う人材育成が重要である。アカデミア、ベンチャー・スタートアップによる上市やライセンスイン/アウトを見据えた特許戦略立案を学ぶために、TLOと製薬企業との人材交流を活性化させOn-JTでの教育機会を設ける施策が考えられる。ただし、製薬企業との守秘義務契約は必須であり、かつ相互のノウハウ提供や補助金の整備等のメリットの提示が必要となる。また、TLOに産業界（特に製薬企業）から優秀な人材を呼び込むため、処遇の改善や労働条件の柔軟化（勤務日を週5日以下にする、勤務時間を短時間に設定する等）に向けて助成金の使途拡大やTLOの業務設計支援を行う。
(3) 委託研究事業の柔軟性向上	アカデミア・ベンチャーはビジネス観点での知財戦略立案に課題があり、事業化において重要な第一号特許の作り込みや国際出願の戦略が練られていないケースがある。AMEDによる委託研究に対する特許出願のマイルストンも知財戦略が十分に練られていないまま特許出願を急がせる一因になっている。そこで、中間評価やマイルストンに柔軟性を持たせ、後戻りを可能にする・マイルストン設定を可変にする等、事業化をゴールとして委託研究事業内容を再設計する。例えば、事業化に際して重要な第一号特許の取得タイミング等のKPIに関しては、事業毎に柔軟なマイルストン設定を行うなどが考えられる。また、委託研究の応募要件を、基礎研究に対しては幅広いテーマ、応用研究に対してはより具体的なテーマに設定したり、応用研究では国力強化に向けた技術軸でのテーマ設定を行ったりと、委託研究のテーマ設計も選択肢を増やす取組みが必要である。委託研究の応募要件を適切に設定することで、優れた技術を見つけ出し支援することができる。また、第一号特許を作り込むことで、事業化に至る確度を高めることができる。

4. 今後の展望 (AMEDの支援の方向性)

事業化・出口戦略・投資呼び込みの課題に対する支援の方向性 (4)、(5)

取りうる施策仮説	内容
(4) 認定VC制度の活用	<p>国内のアカデミア・ベンチャーは経営・事業開発人材や治験の設計ならびにCROを管理する人材が不足しており、製薬企業との交渉が円滑にいかないという課題がある。これらの課題に対して、VCの人材紹介や人材派遣等のハンズオン支援を強化することが肝要である。また、日本全体における研究開発の資金や事業化ノウハウの不足が喫緊の課題であるため、当該領域により多くの資金・事業化ノウハウが流入する仕組み作りが必要である。</p> <p>VCによる支援は、直接的なハンズオン支援に留まらず、VCとの連携による関係機関におけるOJTの促進など、間接的効果も期待できる。しかしながら国内VC自体多いとは言えない現状、それ自体の量的・質的育成も課題と考えられ、これについては海外VCとの連携が重要になることが考えられる。</p> <p>これらの課題を克服しつつ、VCによるアカデミア、ベンチャー・スタートアップの支援強化を進めるにあたっては、現行の「認定VC制度」の活用及び運用が重要と考えられる。</p> <p>現状、我が国はスタートアップ関連の補正予算が約1兆円用意されることとなり、AMEDは3,500億円規模で創薬に特化したハンズオンによる事業化サポートを行うベンチャーキャピタルを認定し、その認定VCが出資する創薬ベンチャーが実施する実用化開発の支援を実施している。日本に加え海外市場での事業化を行う計画についても支援対象としている。</p> <p>現行の認定VC制度を活用し、バイオ系ベンチャーを支援するVCの母数を増加させるとともに、事業化の実行支援を拡充させることが、上記の課題の解決策になり得る。事業化に向けた実行支援では、出口を見据えた事業戦略の立案や治験の設計、CRO管理などが挙げられる。</p>
(5) 医薬品開発段階の助成対象や助成金使途の柔軟性向上	<p>アカデミア・ベンチャー・スタートアップは、技術開発が成功したとしても、その後の非臨床試験、臨床試験に用いる治験薬製造に苦戦するケースが多数見受けられる。想定する治験薬製造は小ロットであり、製造委託先が見つからないことがしばしばある。委託先が見つかったとしても、小ロット対応が難しく、ロットに見合わない規模の設備で生産することによって費用が嵩む（約1億円かかるが、現状はシーズB・シーズC等の数千万円規模の資金支援が存在する）。小ロットの治験薬製造に関しては、創薬基盤として整える必要があるため、政府として対応を検討すべき事項である。支援策として、医薬品開発段階の助成対象や助成金使途として小ロットの治験薬製造を対象に含めること、アカデミア・ベンチャー・スタートアップに対して、治験薬製造など研究以外にかけられる費用を補填する施策もあり得る。</p>

4. 今後の展望 (AMEDの支援の方向性)

事業化・出口戦略・投資呼び込みの課題に対する支援の方向性 (6) ~ (8)

取りうる施策仮説	内容
(6) 国内の中堅製薬企業、CDMOとの連携促進	国内のアカデミア・ベンチャーは、シーズを出口に繋げるにあたり相談相手が限定的である。国内では、産学官連携支援のプログラムにより大手製薬企業とは定期的に意見交換ができていますが、その他の企業との接点は乏しい。今後、アカデミア・ベンチャーのシーズの導出先の候補を増やしたり、非臨床試験、臨床試験実施に向けた小ロットの治験薬製造を容易にしたりするためには、これまでアカデミア、ベンチャー・スタートアップと交流が少なかった国内中堅の製薬企業・CDMOとの連携を進めることが肝要である。現在「AMEDぷらっと」で実施されているマッチング支援システムの利用対象を拡大するなどといった施策が考えられる。既存事業の対象企業を拡大することで、出口戦略が豊富化する。
(7) 海外ステークホルダーとの連携促進	国内のアカデミア・ベンチャーは、シーズを出口に繋げるにあたり相談相手が国内企業に限られている。グローバルでは、政府機関、規制当局、製薬企業、VC、医療機関など医薬品開発関連のステークホルダーとの接点が乏しい。この点、海外の有名大学では定期的に（半年に1回程度）製薬企業やVCを集めた研究結果の公聴会を開催し、ビジネス化に向けたアイデア出しやディスカッションを行っている。国内にこのような仕組みを作る支援もあり得る。あるいは、日本で実施している産学官連携の仕組み（AMEDぷらっと）を海外にまで広げ、海外の産学官連携に繋げる施策を講じることも考えられる。日本のアカデミア・ベンチャー・スタートアップが事業化ノウハウあるいは資金、提携先を国内外から調達することができれば、事業化の機会が格段に増える。
(8) 産学連携ラボの拡充、シェア型ウェットラボの利用促進	アカデミア・ベンチャーの課題の1つに、ウェットの研究を行う施設・設備不足がある。特に、アカデミア内の研究施設が手狭になっている。また、主要機関、企業が集まる都内近郊で研究開発を行うことで産学官連携が容易になる。そこで、産学連携ラボ数の増加あるいは利用可能時間の拡大、およびベンチャー・スタートアップに対しシェア型ウェットラボの利用機会を提供するといった方向性の支援が考えられる。バイオに特化したVCや三井不動産が都内にシェアラボを展開しているため、このような既存ラボを利用したいベンチャー・スタートアップに対する利用資金補助を行うなども一案である。

4. 今後の展望 (AMEDの支援の方向性)

調査結果：8つの仮説から3つの支援策を提案

- 今後の課題は、国内シーズを基にした創薬の実行性を強化することにある。実効性強化策として特に重要と考えられる施策は3つ。
1. 研究支援、2. 事業化支援、3. 非臨床・臨床試験支援である。

支援項目	課題	課題に対する解決の方向性	取りうる施策仮説
事業化	ビジネスプラン策定	事業化機能強化支援 (経営・事業開発人材の獲得、育成)	(1) 現行支援の強化・認知向上
	知財戦略	TLO機能強化支援 (人材獲得、育成)	(2) 先進TLOの機能強化
		第一号特許の作り込み促進	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	治験設計	治験推進機能強化 (CROマネジメント人材獲得、育成)	(4) 認定VC制度の活用
非臨床試験、臨床試験用の医薬品製造		(5) 医薬品開発段階の助成対象や助成金使途の柔軟性向上	
出口戦略	国内	国内の産学官臨の連携支援	(6) 国内の中堅製薬企業、CDMOとの連携促進
	海外	海外の産学官臨の連携支援	(7) 海外ステークホルダーとの連携促進
投資呼び込み	資金	バイオ系VCの母数の増加	(4) 認定VC制度の活用
		投資テーマ・投資先配分の再設定	(3) 委託研究事業の柔軟性向上
	設備	ウェットラボ利用機会の増加	(8) 産学連携ラボの拡充、シェア型ウェットラボの利用促進

【研究支援】
事業化も念頭に置いた委託研究事業の柔軟な仕組みの検討

- 幅広い支援が必要な基礎研究の助成のあり方
- 出口を見据えた支援が必要な応用研究の助成のあり方

【事業化支援】
ビジネス観点での開発・知財戦略立案を担う人材をOn-JTで育成

- 橋渡し拠点の強化
- 企業との連携による人材交流
- 認定VCの活用

【非臨床・臨床試験実行支援】
小ロットの治験薬製造に対応できる仕組みを確保

- 国内CDMOへの支援
- アカデミア、ベンチャー・スタートアップとCDMOとの連携体制を支援
- 既存の製造基盤の整備・活用

The text is framed by two decorative swooshes. The top swoosh is a gradient bar transitioning from blue on the left to red on the right. The bottom swoosh is a solid blue bar.

Share the Next Values!