

### 3. ビジョン1 『先進創薬で次世代医療を牽引する～P4+1 医療への貢献～』

#### ビジョンの実現に向けた戦略のポイント

##### 医療データベースの構築と創薬応用に向けた協力と働きかけ

- ・ 医療ビッグデータの整備と利活用
- ・ 疾病の発症メカニズムの解明やバイオマーカー探索の促進

##### P4+1 医療の実現に向けた対応

- ・ P4+1 医療の実現に向けた環境整備と情報発信
- ・ 患者参加型医療の実現に向けた育薬の推進

##### 個別化医療薬創出に向けた取り組み

- ・ バイオ医薬品、再生医療製品、核酸医薬品等の先進医療技術開発の推進

##### 業界内連携・多業種連携による創薬技術とノウハウの融合

- ・ 産学官連携強化による創薬生産性の向上
- ・ 先進創薬実現に向けた産産連携のさらなる推進
- ・ 国内外の多産業連携拠点の積極的な形成のための提言と支援

##### 世界最高レベルの治験実施体制の構築に向けた対応

- ・ 患者情報を活用した医療機関ネットワークへの提言と支援
- ・ 個別化医療薬創出に向けた診断薬開発と PGx を用いた効率的治験の推進

##### P4+1 医療の実現に向けた制度面からの取り組み

- ・ 先駆けパッケージ戦略の実施と拡大に向けた提言と企業体制の構築
- ・ アンメットメディカルニーズが高い領域の承認制度の充実に向けた提言
- ・ 研究開発を促進する税制に関する提言と働きかけ

#### (1) ビジョンの考え方

近年の次世代シーケンサー※1解析などの著しい進歩を背景に個人ゲノム情報※2やその他の生体分子情報が精密・迅速に分析されるようになり、疾病の原因や発症の過程が分子レベルでより詳細に理解されるようになってきた。これらのゲノム情報とバイオマーカー※3等を用いた診断により、患者の遺伝的背景・生理的状态・疾患の状態を考慮した、患者個々に最適な治療法を設定する個別化（Personalized）医療が進みつつあり、個々の患者に対する薬剤の治療効果を高め、副作用の軽減が期待できる。

また、これらゲノム・オミックス解析※4の研究と診断技術の発展により、発症した疾患の診断だけでなく、発症前に高い確率で疾患の予測・早期診断

(Predictive)ができるようになることが予想される。従来は治療が困難であった疾患についても、発症前、あるいは発症早期の段階での予防・先制(Preventive)医療※5が可能となるため、発症予防や発症遅延が期待できる。

このような次世代医療では、予防の場における患者自身による医療の選択、遺伝子情報の提供、治験の参加等、「患者が自ら考え、判断する」医療への参加(Participatory)の機会が増えると予想される。

我々は、患者の治療満足度の向上、すなわち治療効果の最大化と副作用の最小化をこれまで以上に高めるべく、従来の発症後に処方される医薬品を提供するだけでなく、患者の理解のもと、患者ごとに最適な医薬品を、先制医療を含めた適切なタイミングで提供するという、次世代医療の実現に向けて貢献し、さらには先進創薬で牽引すべく果敢に挑戦していかなければならない。

製薬協会会員会社は、アンメットメディカルニーズ※6の高い疾患に対して多くの革新的な医薬品を創出してきたが、難病・希少疾患をはじめとするアンメットメディカルニーズは依然として残されている。アンメットメディカルニーズ解消を目指し、疾患のメカニズム解明から創薬研究、臨床開発、承認審査までのそれぞれの段階において、積極的なチャレンジを継続する必要がある。新薬創出の生産性は世界的に低下し、一つの医薬品を創出するコストは年々増大しているが、既存技術の高度化・融合等、競争力を有する技術分野での取り組みをさらに促進し(Progressive)、医療の質や効率の向上を通じて、患者に安全で有効性の高い革新的な医薬品を提供し、健康長寿社会の実現に貢献していく。

## (2) 次世代医療「P4+1 医療」への貢献

我々は、先進の医療と従来医療の質や効率の向上を実現した次世代医療として「P4+1 医療」を独自に定義した。P4+1 医療とは、早期診断・予測により、患者の理解のもと、患者ごとに最適な医薬品が適切なタイミングで提供される医療である。

P4	個別化 (Personalized)	: 遺伝要因および環境要因による個別化
	予測的 (Predictive)	: 遺伝子情報およびバイオマーカーによる精密な予測
	予防的 (Preventive)	: 精密な予測に基づく予防的介入
	参加型 (Participatory)	: 患者個人による情報の理解と医療への参加
+1	進歩的 (Progressive)	: 既存技術の高度化・融合等による医療の質や効率の向上

P4 医療は、個別化・予測・予防・患者参加型の医療であり、個人の遺伝情報およびバイオマーカーによる予測に基づいた、予防的な医療介入、患者自身による情報の理解と医療への参加を意味しており、アメリカで提唱されている先進的な概念である。また、アンメットメディカルニーズ解消に大きく貢献してきた従来の医療の質や効率を高める技術の進歩、高度化（Progressive）の重要性は論を俟たない。我々は、P4 医療と Progressive な医療の双方に資する創薬イノベーションの実現を目指し、両者を融合した次世代医療「P4+1 医療」に貢献し、さらには先進創薬により牽引していくことをビジョンとして掲げた。

### （3）ビジョンの具体的な姿

- 医療ビッグデータを創薬に有効活用することで、患者ごとに最適な医薬品が適切な時期・期間で提供される医療の実現に貢献している
- 世界から創薬資源と知恵を呼び込み、個別化医療、先制医療、再生医療等の先進・成長分野において、世界トップレベルの創薬力を有している
- 難病やアンメットメディカルニーズの高い疾患に対する革新的な医薬品を数多く創出している

製薬協は、上記 3 点の実現に必要な制度の構築や人材育成・人材集積に積極的に取り組み、支援している。

以上の結果として、創出された日本発の革新的な医薬品が世界市場に占める品目数シェアは 13% を超え、そのうち個別化医療・先制医療薬の品目数は 20% を占め、世界で存在感を発揮している※7。さらに、難病・希少疾患治療薬の国内新薬承認数は、過去 5 年と比較して倍増している※8。

### （4）製薬産業の研究開発の現状

#### 1) 医療情報データベース化ではアメリカが先行

ゲノム研究・コホート研究※9 では世界的に大きな取り組みがなされ、それらを統合する医療ビッグデータ※10 が注目されている。個別化医療・先制医療に向けた利活用が期待されており、国内では、ゲノム医療実現推進協議会が 2015 年 1 月に発足し、ゲノム医療実現に向けた取り組みが始まった。一方、疾患指向的研究や医療現場での実利用に向けた環境整備においては、欧米、特にアメリカに先行されている状況にある。

#### 2) 日本発医薬品の品目数シェアは微増、バイオ医薬品では先行する欧米を追行

日本発医薬品（世界売上 3 億ドル以上の医薬品）の売上シェアは低下傾向にあるが、品目数シェアは 2008 年の 9.6% と比較して増加しており、2014 年は 10.9% であった※11。

バイオ医薬品（世界売上上位 50 品目中）の売上高比率は 2006 年の 21% から

45%（2013年）※12と増加しており、バイオ医薬品の存在感は急速に高まっている。バイオ医薬品の研究開発では欧米が先行しているが、製薬協会員会社のバイオ医薬品の臨床試験新規開始数は、この10年で15品目（2000～2004年）から30品目（2010～2014年）に増加し、開発企業合計数は9企業（2000～2004年）から24企業（2010～2014年）に増加しており※13、取り組みの積極化はうかがえる。

### 3) アンメットメディカルニーズの高い疾患への研究開発のシフト

患者数の少ない希少疾患や、難病などのアンメットメディカルニーズの高い疾患に対する研究開発が進展している。国内の希少疾患治療薬の承認数は、2000～2004年の29品目から継続的に増え、2005～2009年は52品目、2010～2014年は79品目となっている※14。製薬協会員会社の開発状況では、アンメットメディカルニーズの高いがん、中枢神経領域で、これまで以上に多くの医薬品が開発されている※15。

### 4) 臨床開発期間は短縮、さらなる治験の活性化・質の向上に向けて取り組み

国内承認新有効成分含有医薬品（NME）における臨床開発期間（初回治験届～申請：全承認品目）は、2005年からの10年間で21ヵ月短縮され（2005年：69.2ヵ月、2014年：48.2ヵ月）、日米で比較したNME数では、2014年は日本が約2倍（日本60品目、アメリカ31品目）※14となっており、臨床開発状況は活発である。

さらなる臨床研究・治験の活性化、質の向上には、高度な知識を有するレギュラトリーサイエンス※16の専門家や生物統計家等の増員が不可欠である。特に急務である生物統計家の育成に関して、製薬協は厚生労働省およびAMEDと協議を重ね、大学や病院に寄附講座や研修講座を設置する事業の立上げに協力している。

### 5) AMEDの設立と薬事制度面での大きな進展

2015年4月にAMEDが発足した。製品化・実用化を視野に入れた基礎から実用化までの一貫した研究マネジメント体制が整い、産学官連携のさらなる強化が期待される。薬事制度面では、新薬の承認審査において、過去10年間で審査期間は大きく短縮し、欧米と比較して遜色ないレベル※14となったことに加え、先駆けパッケージ戦略等、革新的な医薬品の早期実用化に向けた制度が導入された。

## (5) ビジョンの実現に向けた課題と戦略

### 1) 医療データベースの構築と創薬応用に向けた協力と働きかけ

日本では、50年以上にわたる国民皆保険制度のなかで、ほぼ全国民の健康・医療データが、レセプト<sup>※17</sup>、カルテ、健診データといった形で捕捉、集積されている。

この有効な資源をデジタル化、標準化することで、世界に誇る全国民レベルの健康・医療データベース構築が可能であるが、その実利用に向けた環境整備には多くの課題がある。さらに、ゲノム・オミックス情報の収集とデータベース化でも、欧米では、国家プロジェクトとして先進医療実現に向けた研究が進められており、欧米に先行されている状況にある。

P4+1 医療を実現するために、疾患の新規標的探索やバイオマーカー探索等における、創薬への医療ビッグデータ利活用の実現が重要なカギとなるが、国内で医療データベースが創薬に利活用される段階には至っていない。

#### ① 医療ビッグデータの整備と利活用

医療ビッグデータの構築、すなわち、臨床検査、レセプト、コホート研究といった医療情報等に加え、新たな医療データであるゲノム・オミックスといった情報が適切に集積され、デジタル化かつ標準化するための課題、さらにその情報を産業界が利活用するための課題に対し、製薬業界のみならず医療者、ITベンダー、保険者、患者団体、規制当局、国立研究開発法人等の関係者が密に連携してあたる必要がある。製薬協は、創薬応用のための医療ビッグデータ整備に関する業界内の意見統一と提言等、国への積極的な協力と働きかけを行う。

#### ② 疾病の発症メカニズムの解明やバイオマーカー探索の促進

医療ビッグデータの創薬応用を促進し、非競合領域において製薬協を主体とした複数企業が共同で取り組むプロジェクトを通じて、疾病の発症メカニズムの解明やバイオマーカー探索を促進する。独創性のある技術を有する他業種やベンチャーを含め、アカデミア・医療機関や多業種との連携強化により、画像解析技術、遺伝子や血液等を用いた先進の診断技術を導入し、疾患因子の早期発見につなげる。

### 2) P4+1 医療の実現に向けた対応

P4+1 医療、すなわち患者個々の情報に基づく予測と診断による個別化医療・先制医療は、従来の集団の医療から個の医療への転換であり、疾患リスクの予測精度等の技術面や社会に受け入れられるための準備等、課題も多い。また、P4+1 医療では、予防における医療の選択や、遺伝子情報の提供、治験への参加において、患者が自ら考え、判断する場面が増えると予想される。

セルフメディケーションの推進、くすり教育の開始、服薬支援資材等の進展、インターネットの発達による一般市民の知識レベルの向上やインフォームドコンセントの一般化等、医療に関する双方向での知識は醸成されてきているものの、医療者と患者が治療に関して十分に意見を交わすレベルにはまだ達していない。

### ① P4+1 医療の実現に向けた環境整備と情報発信

医療情報のデータベース化では、患者に還元されることも踏まえた体制が構築されるとともに、患者個々の情報に基づく予測と診断による個別化医療・先制医療を実現していくための環境整備に向け、製薬協の専門委員会を通じて、世界動向の情報を共有し、P4+1 医療推進のための議論と意見形成および情報発信を行う。

### ② 患者参加型医療の実現に向けた育薬の推進

患者団体や AMED 等と連携し、患者ニーズを効率的に創薬研究開発に反映する仕組みを構築する。また、患者がより正しい知識を持つことができるよう、適切かつ積極的な情報提供を行い、患者が主体的に医療へ参加できるよう支援する。

## 3) 個別化医療薬創出に向けた取り組み

難病・希少疾患等、アンメットメディカルニーズの高い疾患が依然多く残されており、これら疾患のメカニズム究明やバイオマーカー探索が急がれる。同時に、先進創薬で重要なモダリティー※18であるバイオ医薬品、再生医療製品、核酸医薬品の創出における国際競争力強化が課題となっている。特にバイオ医薬品では、国内では限られた企業が人材や製造設備を有しているのみであり、国際的に遅れを取っている状況である。

### ① バイオ医薬品、再生医療製品、核酸医薬品等の先進医療技術開発の推進

今後、バイオ医薬品のニーズはさらに高まることが予想される。国内企業がバイオ医薬品創出において国際競争力を持つためには、アカデミア等のシーズを産業化するための産学官連携体制が発展し、国内でバイオ医薬品製造（治験薬含む）が可能な製造設備が拡充され、知識と経験が豊富なバイオ人材が充足されることが必要である。製薬協は、バイオ医薬品等の研究開発の促進に取り組むとともに、その製造技術に関する人材育成プログラムのさらなる推進と拡充に向け、政府との連携強化と支援を行う。

また、製薬協会員会社が、再生医療製品や核酸医薬品等の先進技術分野で世界的に存在感を発揮し、世界をリードしていくため、製薬協は産学官連携を推進し、薬事規制上の課題解決、国際協調に向けた活動、そして実用化に向けた環境整備に主体的に協力する。

#### 4) 業界内連携・多業種連携による創薬技術とノウハウの融合

製薬企業の研究開発においては、研究開発パイプラインの不足と研究開発費高騰を背景に、オープンイノベーションへの取り組みが進みつつある。AMEDの発足等、官民でのパートナーシップやアカデミアと企業の関係性は深化しつつあるが、世界に通用する革新的な医薬品創出には、官学との連携の深化と業界を超えた幅広いパートナーとの連携が必要である。また、企業間の産産連携も、化合物ライブラリー※19の共有等、従来にはなかった動きがみられているものの、まだ限定的な状況にある。

##### ① 産学官連携強化による創薬生産性の向上

自社以外のリソースを有効活用する研究開発モデルをさらに促進し、さらなる創薬の生産性向上を目指す。非競合領域において製薬協を主体とした複数企業が共同で取り組むプロジェクトを通じて、AMEDをはじめとする産学官との連携を促進し、製薬企業の独自技術とアカデミアや創薬ベンチャー企業のシーズや先進技術を融合させる。

##### ② 先進創薬実現に向けた産産連携のさらなる推進

化合物ライブラリーの相互利用提携等、従来にないノウハウの共有を含む産産連携が進みつつある。製薬企業の創薬力をさらに強化し国際競争力を持つため、製薬協を中心とした連携拠点を構築し、会員会社の研究開発部門トップの交流促進、化合物ライブラリーの共有にとどまらない積極的な情報交流、ドラッグ・リポジショニング※20を目的とした品目の積極的交流等、会員会社の柔軟な産産連携を業界として支援する。

##### ③ 国内外の多産業連携拠点の積極的な形成のための提言と支援

国際競争力をさらに強化するため、国外から創薬資源と知恵を呼び込み、国内での創薬イノベーション環境を活性化させる。そのための国内外を含めた多産業、創薬ベンチャー企業等との企業・機関連携拠点として、医療特区やクラスター等産業集積のための提言と支援を行う。また、創薬ベンチャー企業の育成にこれまで以上に積極的な姿勢で取り組み、適切なプラットフォームのあり方について検討する。さらに、AMEDの設立を契機に、医療分野における公的なベンチャー支援と、ニーズとシーズのマッチング環境整備が省庁横断的に、効果的・効率的に推進されるよう、産業側から提言、支援を行う。

#### 5) 世界最高レベルの治験実施体制の構築に向けた対応

P4+1 医療実現に向けては、国内発の革新的な医薬品の創出とともに、世界で生み出される新薬へのアクセス向上も重要であり、世界最高レベルの治験実施

体制の構築が期待される。しかし、国内治験実施体制は、症例集積性の低さ、症例当たりのコストの高さ等が国際的観点からも改善すべき課題となっている。また、難病・希少疾患等の治療薬開発では、少数例での臨床有効性の評価も課題となっている。

#### ① 患者情報を活用した医療機関ネットワークへの提言と支援

政府が推進するクリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）構想を積極的に支援し、臨床研究・治験等臨床開発の環境整備のための提言と協力を行い、疾患登録情報を活用し、治験施設選定の迅速化、症例組み入れの加速、症例集積性の向上等、治験の効率化を図る。患者数が少ない難病・希少疾患治療薬開発推進のためにも、CINによる治療履歴を含めた患者情報を集約したレジストリー<sup>※21</sup>の構築と拡張に向けた提言を行う。

複数の医療機関での治験に必要な手続（依頼、契約、審査等）が一箇所の窓口で可能となるワンストップサービス化を実現するために、関係するステークホルダーと協議・連携する。

#### ② 個別化医療薬創出に向けた診断薬開発と PGx を用いた効率的治験の推進

個別化医療薬の創出には、コンパニオン診断薬<sup>※22</sup>の開発上の課題対応や、ファーマコゲノミクス（PGx）<sup>※23</sup>を用いた患者層別マーカー<sup>※24</sup>を利用した研究の進展も必要である。製薬協は、診断薬開発と治験でのバイオマーカー利用を推進するとともに、関連産業や行政との連携を深め、規制上の課題に関する協議と提言を行う。

### 6) P4+1 医療の実現に向けた制度面からの取り組み

薬事面では、アンメットメディカルニーズの高い非感染性疾患（NCDs）<sup>※25</sup>、難病・希少疾患等に対する医薬品アクセスは諸外国の例（アメリカの Breakthrough Therapy、イギリス 医薬品医療製品規制庁の Early Access to Medicines Scheme、欧州医薬品庁の Adaptive Pathways 制度等）に比して未だ不十分であり、また先制医療の薬事制度は整備の途上にある。海外医薬品の国内へのアクセス向上については、薬事制度の各国間での不整合や日本語での申請資料作成等、改善の余地がある。

税制面では、民間企業の研究開発投資を支援する手段として、日本の研究開発税制は重要な役割を果たしており、今後も維持・拡充を継続すべきである。また、法人実効税率の財源として政策目的が異なる研究開発税制の縮小を議論するといった二者択一であるかのような議論はすべきでなく、法人実効税率を引き下げつつ研究開発を促進するための税制を拡充しているイギリスの例も参考として議論すべきである。

### ① 先駆けパッケージ戦略の実施と拡大に向けた提言と企業体制の構築

先駆けパッケージ戦略の効果的な実施に向け、製薬協は、優先相談や優先審査の期間短縮のために必要な人員の確保と、審査員の教育体制のさらなる充実を当局に提言する。また、承認申請・審査手続きの円滑化と効率化を図るため、英語資料の受け入れ範囲の拡大や各国間の審査パッケージの統一、日本人データの代わりにアジア人データを海外の第 III 相試験に含めること等、各社の意見を集約し改善に向けた提言を行う。また、製薬協会会員会社は、今後の各国の規制の国際標準化に向け、海外の審査資料を申請資料とする際の社内体制を構築するとともに、先駆け審査等迅速な承認審査に対応できる社内の人材確保および教育等を行う。

### ② アンメットメディカルニーズが高い領域の承認制度の充実に向けた提言

希少疾患治療薬への開発推進策として、追加臨床試験や医療機関の限定を条件に少数例の治験で承認する制度運用がなされている。今後、アンメットメディカルニーズの高い重篤な疾患等を対象とする医薬品の開発の必要性がますます高まると予想されることから、当該制度の運用範囲を拡大し、指定難病や重篤感染症等の疾患を対象に加えていくことを提言する。また、安全性や有効性に対応する人材の確保と質の高い教育を行うとともに、審査当局側に対しても承認審査に関する人材確保と教育を要望する。

### ③ 研究開発を促進する税制に関する提言と働きかけ

より良い薬をより速く患者に提供できるよう革新的な医薬品の創出を加速し、また、製薬産業の競争力を高めるために、世界各国よりも魅力的な研究開発税制の構築や知的財産強化のための税制の導入等に関する提言とその実現に向けた働きかけを行う。

[注]

- ※1 シークエンサー：DNA の塩基配列の解析装置。
- ※2 ゲノム情報：DNA の全ての遺伝情報。
- ※3 バイオマーカー：「通常の生物学的過程、病理学的過程、または治療的介入に対する薬理学的応答の指標として、客観的に測定され評価される特性」、広義には日常診療で用いられるバイタルサインや、生化学検査、血液検査、腫瘍マーカーなどの各種臨床検査値や画像診断データなどが含まれる。
- ※4 ゲノム・オミックス解析：遺伝子情報や、遺伝子転写物、蛋白質、代謝物などの生体分子を解析する手法。
- ※5 先制医療：個人の遺伝子情報やバイオマーカーを用いて疾患の発症を高い精度で予測し、

症状や重大な組織の障害が起こる前の適切な時期に治療的介入を行い、発症を予防する、または遅らせるという概念。

- ※6 アンメットメディカルニーズ：未だ有効な治療方法や薬剤がない医療へのニーズ。
- ※7 世界売上3億ドル以上の医薬品数に対する日本発医薬品数割合が13%(2014年比1.2倍)
- ※8 2009～2014年の希少疾患治療薬承認数79品目に対して2020～2024年の難病、希少疾患治療薬承認数が2倍。
- ※9 コホート研究：規定された集団を追跡し、疾病の発生あるいはその他の転帰（死亡等）に影響すると考える要因（重症度、薬剤の有無、年齢等）を分析する疫学の研究法。
- ※10 医療ビッグデータ：レセプト、電子カルテ、臨床検査等の診療情報やゲノム・オミックスなどの生体分子情報等を含む医療に関連する大容量データ。種々の膨大なデータが日々産出されており、これらの膨大なデータの総称。
- ※11 ユート・ブレン事業部「Pharma Future」2015年5月号
- ※12 医薬産業政策研究所。「製薬産業を取り巻く現状と課題～よりよい医薬品を世界へ届けるために～ 第一部：イノベーションと新薬創出」産業レポートNo.5（2014年12月）（ユート・ブレン事業部「Pharma Future」2014年5月号をもとに作成）
- ※13 Pharmaprojects、Evaluate Pharma
- ※14 医薬産業政策研究所。「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績－2000～2014年承認品目－」リサーチペーパー・シリーズNo.68（2015年11月）
- ※15 各社公表資料
- ※16 レギュラトリーサイエンス：科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測・評価・判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。
- ※17 レセプト：診療報酬明細書
- ※18 モダリティー：低分子化合物、バイオ医薬、核酸医薬など薬の物質的な種別。
- ※19 化合物ライブラリー：創薬研究に利用する化合物を集積したもの。
- ※20 ドラッグ・リポジショニング：既存薬、あるいは開発中止に至った薬剤の新しい作用や適応症を見出すこと。
- ※21 レジストリー：臨床研究・治験を円滑に進めるために行う患者情報の登録。
- ※22 コンパニオン診断薬：薬の使用に際して、薬の有効性や副作用の個人差を予測し、最適な投薬を補助することを目的として用いられる体外診断薬。
- ※23 ファーマコゲノミクス(PGx)：特定の疾患群に対して有効かつ安全な医薬品を探索・開発するために患者のゲノム情報の解析を用いたアプローチする手法。
- ※24 患者層別マーカー：薬剤に関連した特定の分子を発現している患者を選別するバイオマーカー。
- ※25 非感染性疾患(NCDs)：循環器疾患・がん・糖尿病・慢性呼吸器疾患などの生活習慣病・慢性疾患。