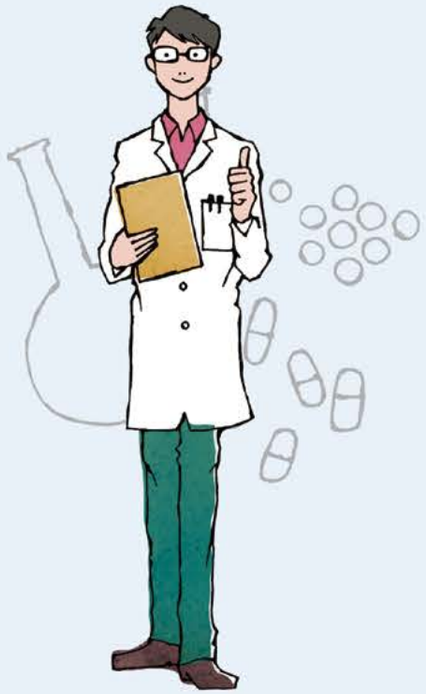
もっと知りたい！新薬のこと



製薬協

新薬の開発を通じて社会への貢献をめざす

日本製薬工業協会

Japan Pharmaceutical Manufacturers Association（JPMA）
〒103-0023　東京都中央区日本橋本町 2-3-11
日本橋ライフサイエンスビルディング７階
TEL:03-3241-0326（代表）FAX:03-3242-1767

製薬協は、研究開発志向型の製薬会社が加盟する任意団体です。

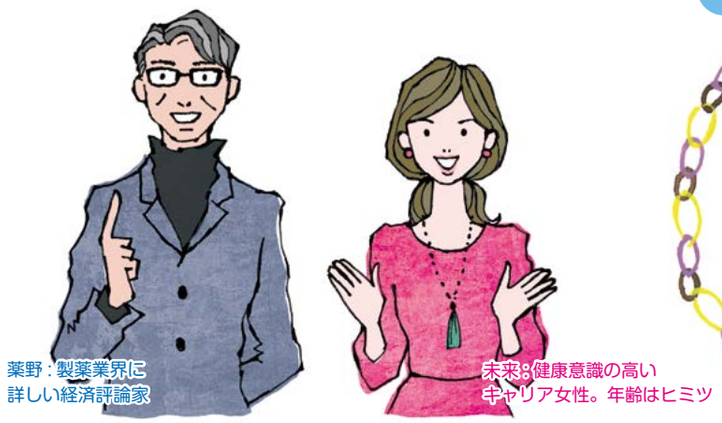
製薬協ウェブサイトでは、くすりと製薬産業について、さまざまな情報を提供しています。

https://www.jpma.or.jp

製薬協　検索

2018 年 3 月　初版発行
2024 年 9 月　第 2 版発行

知ってナットク！ 製薬業界TODAY



日進月歩で進化している日本の創薬技術。製薬業界の「いま」を、いっしょにのぞいてみませんか。

がん医療の進歩を支える新しいくすり

未来　「日本人の2人に1人が、がんにかかる時代」かぁ…。

薬野　未来ちゃん、ため息ついてどうしたの？

未来　ネットニュースでがんについての記事を見たんだけど、日本人の2人に1人ががんにかかり、4人に1人ががんで亡くなっているんですって。何だかこわくて…。

薬野　確かに多くの人がかかるけど、医療の進歩のおかげで、いまやがんは早期に発見すれば十分に治る可能性のある病気になっているんだ。

未来　がんを診断する技術も進歩しているって聞いたわ。

薬野　うん、それにがん治療薬も進歩しているよ。たとえば、**分子標的薬**がある。これまでの抗がん剤はがん細胞だけでなく正常な細胞も攻撃してしまうことがあったが、分子標的薬は、がんの増殖や転移にかかわるたんぱく質（分子）だけをピンポイントに攻撃することを想定している。従来の抗がん剤に比べて副作用が少なくなると期待されているよ。まだ全てのがんに使えるわけではないが、患者さん一人ひとりの遺伝子を調べて、その人に合ったくすりを使用して治療できるようになってきた。これを**オーダーメイド医療**というそうだ。

未来　そっか、早期に発見してその人に合ったくすりを使えばよく効くし、副作用も少なくてすむ、ってことね。

薬野　おっ、冴えてるね。そこまで勉強したら、次にすることは何かな？

未来　がん検診を受けること！はいっ、すぐに予約します！

「難病」といわれた病気の治療薬も

未来　がん以外にも画期的なくすりはあるの？

薬野　うん。この10年ほどの間にいろいろ開発されている。たとえば2003年に関節リウマチ治療薬として登場した**抗体医薬**。関節リウマチは徐々に関節が変形して腫れや痛みをひきおこすつらい病気なんだが、このくすりのおかげで病気の進行を食い止めることができるようになってきたんだよ。

未来　病気が進行しないなら患者さんにとっては安心ね。

薬野　進行させないだけではなく、完治が望めるようになった病気もある。ウイルス感染が原因のC型肝炎を知っているかい。感染しても無症状のままだけど、約20年の経過で肝硬変や肝がんへと進んでいくこわい病気なんだ。これに対し、2014年以降、新しいタイプの抗ウイルス剤が次々と開発されて、日本の医療現場でも使えるようになり、のみ薬だけでもほとんどの患者さんが治るようになった。

国境を越えて、病気と闘う

未来　昔は治せなかった病気がくすりで治るって、すごいなあ。

薬野　それでもまだまだ多くの病気があり、現在も治療に困っている病気がたくさんある。「**アンメット・メディカル・ニーズ**（いまだに有効な治療法のない病気）」と呼ばれているよ。製薬業界がこれからも永遠に挑戦しつづける研究開発のテーマだ。

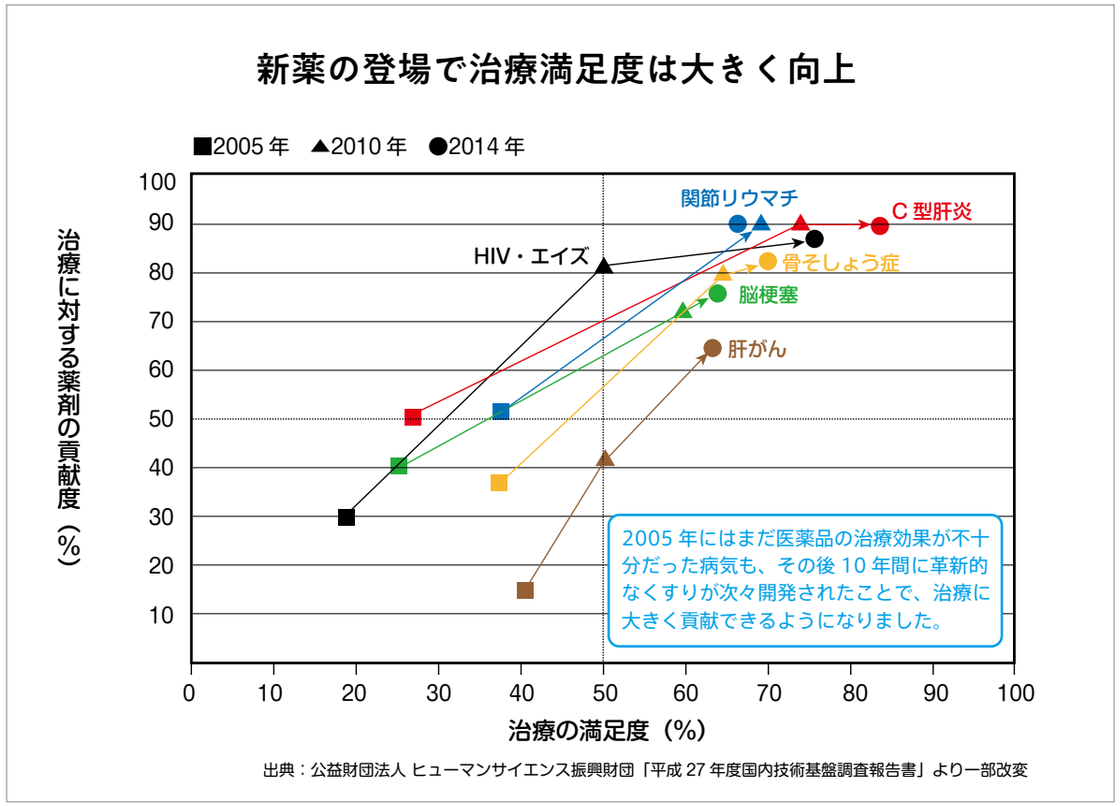
未来　日本は世界トップクラスの長寿国でしょ。新しいくすりに長い人生、支えてもらおうっと。

薬野　確かに日本人の長寿社会を支える製薬業界の役割は大きいね。でもさらに世界に目を向けると、エイズ、結核、マラリアの3大感染症をはじめとする感染症に10億人以上が苦しめられているという現実がある。日本の製薬業界も、感染症に対する新しいくすりの開発に取り組んでいるよ。

未来　世界の中で、日本の製薬企業はどんな位置づけなの？

薬野　画期的なくすりの開発には高度な技術が必要で、それを担えるのはごくわずかな国に限られる。創薬の件数では日本は世界第6位（2022年）。日本の研究開発力の高さは山中伸弥先生や大村智先生など、ノーベル賞受賞者を次々と送り出していることにも表れている。

未来　創薬の研究で世界をリードする日本だからこそ、国境を越えて病気と闘っているのね！



出典：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成27年度国内技術基盤調査報告書」より一部改変

くすりヒストリー
HISTORY OF MEDICINE

くすりは自然と科学の贈り物

私たちの健康を守るために欠かせない「くすり」 ———
現代の高度な技術開発にいたるまで、「くすり」の歩んだ道。
それは人類が挑戦し続けた、健康への果てしない希求の旅でした。

古代
くすりのルーツ

草かんむりに「楽」と書いて「薬」… 薬という字の成り立ちから、くすりのルーツをうかがい知ることができます。

「楽」という漢字には、「細かく切る、刻む」という意味があります。また、くすりは「草煎（くさいり。草を煎じるの意）」から変化したことばだという説もあります。自然界の植物や一部の動物、鉱物をすりつぶしたり、煎じたりして使う。それがくすりのルーツでした。

紀元前5世紀のギリシャでは、医学の父とされるヒポクラテスがヤナギの皮や枝から現在のアスピリンにつながる鎮痛薬をつくったと伝えられています。一方、日本では、大国主命（おおくにぬしのみこと）や因幡（いなば）の白うさぎが花粉や貝の汁や貝殻の粉をくすりとして用いていたことが「古事記」に記されています。平安時代には、紫式部も参詣したといわれる奈良の長谷寺にさまざまな薬草が植えられ、女性の病気のくすりとして使われていたことが伝えられています。

【参考資料】
日本製薬工業協会編「くすりの情報 Q&A55」
山崎幹夫「薬と日本人」（吉川弘文館）
平山令明「知っておきたい薬の常識」（講談社現代新書）

17～19世紀
薬効成分の解明が進む

つらい病気やけがを何とか治そうと、さまざまな天然物を試してはくすりとして用いていた太古の時代。17世紀になると、ヨーロッパを中心に天然物の薬効成分が注目されるようになりました。薬剤師たちは加熱、冷却、蒸留、抽出などさまざまな加工をほどこして、効果の本質である成分を探りました。19世紀にはキナの樹皮からマラリアの特効薬キニーネ、コーヒーからカフェインなど、さまざまな成分が次々と発見されました。

日本人だって負けてはいません。18世紀には「エレキテル」の発明で有名な平賀源内が、天然の鉱物である芒硝（ぼうしょう）から硫酸ナトリウムを抽出。19世紀末には長井長義（ながいながよし）が麻黄（まおう）から気管支喘息薬エフェドリンを発見し、同様の化合物を大量に合成できることを証明。安定的なくすりの製造の先鞭をつけました。他にも世界初のビタミン（鈴木梅太郎（すずきうめたろう）「オリザニン」。のちのビタミンB_1）や消化酵素（高峰譲吉（たかみねじょうきち）「タカヂアスターゼ」）の発明など、日本人化学者は大活躍。日本の製薬企業が本格的に研究開発に取り組むようになり、現在の新薬開発の礎となりました。

20世紀
現代のくすりの扉が開かれる

20世紀になると、医薬品の開発・製造技術が格段に進み、かつては助からなかった病から多くの人の命を救い、平均寿命を延ばすことに貢献しました。英国の医師フレミングが発見した人類初の抗菌薬ペニシリン。カナダの医師バンディングが発見した、糖尿病治療に欠かせないインスリンなど優れたくすりの開発。海外の麻酔技術が日本にも上陸し、局所麻酔で手術後の痛みも抑えることができるようになり、外科手術の時代が到来。20世紀後半になると臓器移植への挑戦も始まり、新たに開発された免疫抑制剤が治療後の拒絶反応を防ぐために必要不可欠なくすりになりました。

1900年代後半になると、病気の起こるメカニズムについての研究が進みます。それに伴いくすりの開発も、病気のメカニズムに直接作用するくすりを探そうという発想に。胃潰瘍治療薬のH_2受容体拮抗薬（H_2ブロッカー）やプロトンポンプ阻害薬（PPI）などが開発され、従来は手術が必要だった胃潰瘍をくすりで治療できるようになり、患者さんの負担を軽減しました。

21世紀
さらなる技術革新へ

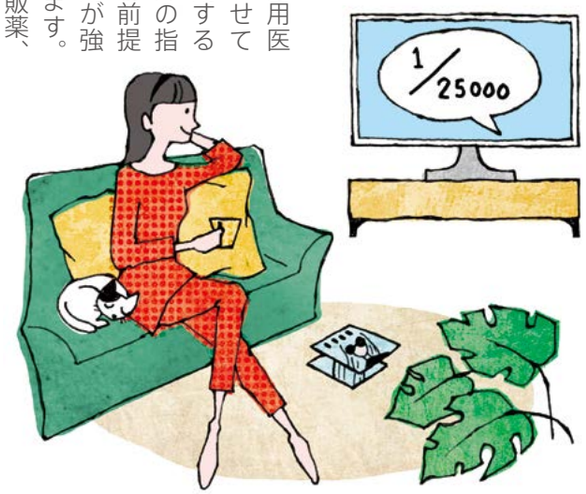
1990年代以降は、バイオ技術や分子生物学の発展とあいまって、創薬（新しいくすりの開発）技術はさらに進化しています。「分子標的薬」「抗体医薬」の登場は、がんをはじめ、これまで治療が難しかった病気の治療にも力を発揮しています。優れた医薬品を患部に直接届ける「ドラッグデリバリーシステム」などの技術開発も進められています。

人類は、それぞれの時代の英知を集めてくすりを創りつづけてきました。その歩みは着実に、大切ないのちを守り、人々を病気の苦しみから解放しています。

意外に知らない!?

新薬トリビア

とっても身近な存在なのに、知られていないことも多い「新薬」のこと。あなたはいくつ知っていますか？



「くすり」には2種類ある!?

私たちの健康を守るために大切な「くすり」。ひと口に「くすり」といっても2種類あるのを知っていますか。

医薬品は「医療用医薬品」と「一般用医薬品（OTC医薬品）」に分けられます。「お医者さんにかかり、処方せんが必要なくすり」と「処方せんなしで購入することができるくすり」の2つ、と考えればわかりやすいかもしれません。

実はこの2つ、同じ「くすり」といっても有効成分の含有量や扱われ方が違います。医療用医薬品は、病気や症状に合わせて医師が処方し薬剤師が調剤するくすりです。医師や薬剤師の指導のもとに使われることを前提につくられているので作用が強くあらわれる場合があります。一方、一般用医薬品は、市販薬、大衆薬とも呼ばれ、かぜ薬や胃腸薬など消費者が自分で選び購入できるくすりです。消費者の自己判断で使われることから、安全性を考慮して有効成分の含有量が調整されています。

「新薬」ってなに?

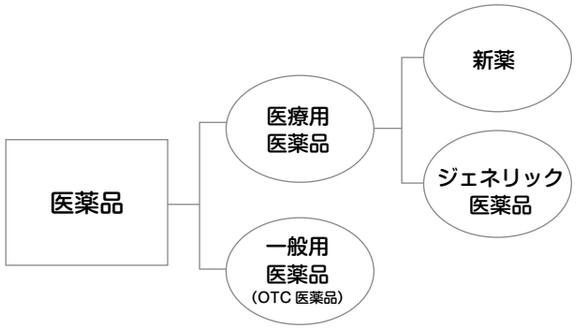
医療用医薬品のなかで「新薬」と呼ばれているものがあるのを知っていますか。新薬とは、新しいくすりの候補化合物が発見され、有効性と安全性が確認された後、国の承認を受けて発売されるくすりです。

一つの新薬が誕生するまでには、多くの研究、試験や申請などの手続きを経なければなりません。研究開発には実に9～16年もの年月と、多額の費用がかかります。研究者が可能性を信じた化合物でも、実際にくすりにするためには病気への有効性だけでなく、安全性も慎重に判断されるため、せっかくの研究開発を断念しなければならないことも少なくありません。くすりの候補として研究を始めた化合物が実際に新薬として世に出る成功確率は約25000分の1。新薬の生まれる道のりはとてつもなく厳しく長いものですが、新薬を開発している製薬企業は多額の研究開発費を投じて、一人でも多くの人の病気を治すためにチャレンジを続けています。

「新薬」と「ジェネリック医薬品」はどう違う?

最近、よく耳にする「ジェネリック医薬品」。新薬とどう違うのか、ご存じですか。

新薬が「先発医薬品」と呼ばれるのに対して、ジェネリック医薬品は「後発医薬品」と呼ばれています。長い年月と多額の研究費をかけて開発された新薬は一定期間、特許などの権利で守られます。その間、開発した製薬企業は引き続き有効性や、副作用などの安全性のチェックなど、新薬を安全に使ってもらうための努力を続けます。やがて新薬の権利期間が満了を迎えると、他の製薬企業も同じ有効成分のくすりを作ることができるようになり、ジェネリック医薬品として販売されるのです。



新薬の開発に患者さんも協力?

新薬の開発の最終段階で行われる「治験」は、患者さんや医師の協力が欠かせません。

開発中の新薬は、研究所などで行われるさまざまな試験が終わると、今度はヒトの体で安全性や有効性を確かめる段階に。いよいよ「治験（臨床試験）」のスタートです。

治験にはいくつかの段階があり、最初は健康な人に協力してもらい、安全性や有効成分の吸収や代謝（薬物動態）などを確認します。それで問題がなければ、病気の患者さんに使っていただき、従来の治療法と比べて効果があるかを調べます。公平な試験が行われるよう患者さんにはボランティアで参加していただき、参加するかどうかはあくまでも患者さんの意思次第。もちろん、副作用などの症状があらわれたときにすぐに適切な対応がとれるよう、安全第一で進められます。

同じ有効成分でも複数の新薬があるのはなぜ?

日本で使われているくすりの有効成分数は約2500。一方、使用されている新薬の製品数は約4000品目、ジェネリック医薬品まで含めると約16000品目あります（2018年）。一つの有効成分であっても、患者さんの年齢や体重、病状に合わせて細かく使い分けることができるよう、タイプの異なる製品が用意されています。

たとえば、有効成分の含有量が異なるものやくすりの使用方法が異なるもの（注射剤や錠剤といった剤形）などです。効果が高いことはもちろん、さまざまな患者さんにあわせた用量、剤形の医薬品が開発されています。

新薬、誕生

ひとつの新薬が世に出るまで、9～16 年。
安全性、有効性の高い新薬をつくるためには、
いくつもの高いハードルがあります。

1 基礎研究（2～3年）

くすりの候補物質を探す

天然素材のほか化学合成、バイオテクノロジー技術を駆使して数多くの化合物をつくります。それらがどのような作用をもっているかを明らかにし、「スクリーニング試験」をくりかえし行って、目的とする病気に効果がある化合物を探していきます。

2 非臨床試験（3～5年）

動物や細胞で試験

ヒトでの試験に先立ち、マウス、ラットなどの動物や、人工的に育てた細胞で試験を行うのが「非臨床試験」です。くすりの候補物質が病気に対して効果があるか、安全性に問題はないか、どのように体内に広がっていくのかなどを確かめます。

3 臨床試験（3～7年）

健康な人と患者さんの協力による「治験」

いよいよ実際にヒトによる試験（治験）の段階です。製薬企業が医療機関に治験への協力を依頼すると、担当医師が院内の審査委員会にはかった上で、治験コーディネーターなどスタッフ体制を整えて実施します。最近では、世界中の医療機関が参加して行う場合もあります。

臨床試験（治験）のステップ

第1相試験（フェーズ1）

通常は、健康な人が対象。安全性や体内への吸収の程度を調べる

第2相試験（フェーズ2）

比較的少数の患者さんを対象に、病気への効果と安全性を調べる。適切な用法・用量なども確認する

第3相試験（フェーズ3）

多数の患者さんを対象に、病気への効果と安全性を確認し、既存のくすりや治療方法と比べて優れているかどうかを評価する

4 承認申請と審査（約1年）

国にデータを提出して承認を得る

臨床試験で良好な結果が得られたら、「新薬」となるための準備に進みます。厚生労働省から医療用医薬品としての承認を得るために申請します。数々の実験、試験で得られた膨大なデータをまとめて提出し、国の専門審査機関の審査を受けます。

5 承認→販売開始

価格が決められ、製造・販売へ

厚生労働大臣の許可が下りると、製薬企業は新薬の製造・販売を行うことができます。しかし、新薬の価格を決めるのは製薬企業ではありません。医療用医薬品の価格（薬価）は厚生労働省が決める「公定価格制度」によって決められ、発売後も定期的に改定されます。

6 育薬（8年～）

製造後も調査・試験を継続

新薬が医療機関で使われ、処方薬として患者さんの手元に届けられた後も、製薬企業は「製造販売後調査」を通常 8 年間実施し、医師や薬剤師から副作用情報などを集めて報告しています。医療現場での使用経験を経て、副作用の低減や使いやすさの改善など、よりよい薬へと改良していく活動を「育薬」と呼びます。その活動は製薬企業の重要な取り組みのひとつです。

製薬企業の研究者のキモチ

新しいくすりをいち早く、待つ人のもとへ

製薬企業の研究は、どういう化合物であれば病気への効果があるかをコンピュータを駆使しながら考え、将来の新薬になりそうな有望株を見つけるところから始まる。自分の思い描いていた通りに優れた化合物をつくり出せた時は飛び上がるほどうれしいけれど、臨床試験が始まる前には身が引き締まる思いになる。マウスでの試験では効果があっても、ヒトに使ったときに効果があるとは限らないし、重大な副作用のリスクがあれば試験は中止されるからだ。厳しい臨床試験を突破できず日の目を見ないくすりが多いだけに、臨床試験を無事通過して医薬品として承認されると決まったら、本当に飛び上がってしまうかもしれない。自分のつくった新薬が、誰かのいのちをつなぎ、苦しみをやわらげる。いつかそんな新薬を作れる日を夢見て頑張っているんだ。

くすり未来ナビ

新しいくすりを、新しい時代へ

未来の医療はもう、そこまで来ています。
製薬企業は新たな時代の扉を開けて、
次世代の健康づくりへチャレンジします。

ゲノム医療

DNAの遺伝情報をもとに、患者さん一人ひとりに適した医薬品を選ぶことで、より効果の高い治療を安全に行うことが期待されています。また、個人の遺伝子から健康リスクを予測し、リスクの高い病気の予防や発症前からの治療など、先手を打つ医療も提唱されています。製薬企業は個々の患者さんに最適なくすりを適切なタイミングで提供できるよう、研究開発に取り組んでいきます。

再生医療

体の器官や組織に育つ（分化）力を持つ細胞（幹細胞）を用いて、病気やけがで機能が損なわれた臓器を再生させる医療です。特に注目されているのは2006年、京都大学の山中伸弥教授が作製に成功した人工多能性幹細胞（iPS細胞）です。現在、治療が難しい病気の患者さんを対象に治験が進められています。製薬企業も、幹細胞を用いた再生医療の実用化に取り組んでいきます。

iPS細胞による新薬開発

iPS細胞の活用により、新しいくすりを患者さんのもとにいち早く届けるとともに、これまで治療が難しかった病気の解明も期待されています。ヒトによる治験の前に、ヒトiPS細胞でつくった臓器細胞を用いて試験を行えば、副作用をある程度予測することができ、新薬の開発がより安全で効率的にできます。また、治療が難しい患者さんの皮膚などの細胞からiPS細胞をつくることで、患者さんに負担をかけることなく病気を解明する大きな手がかりになります。

AI創薬

「AI創薬」とは人工知能（AI）を新薬の開発に活用すること。ヒトの体にある10万種以上ものタンパク質や、製薬企業がもつ数万種もの化合物のデータをAIに学習させ、病気の原因になるタンパク質と結合する化合物を予測することで、新薬の開発期間の短縮化や開発コストの抑制につながると期待されています。現在、製薬企業と大学や専門研究機関との共同研究が始められています。