

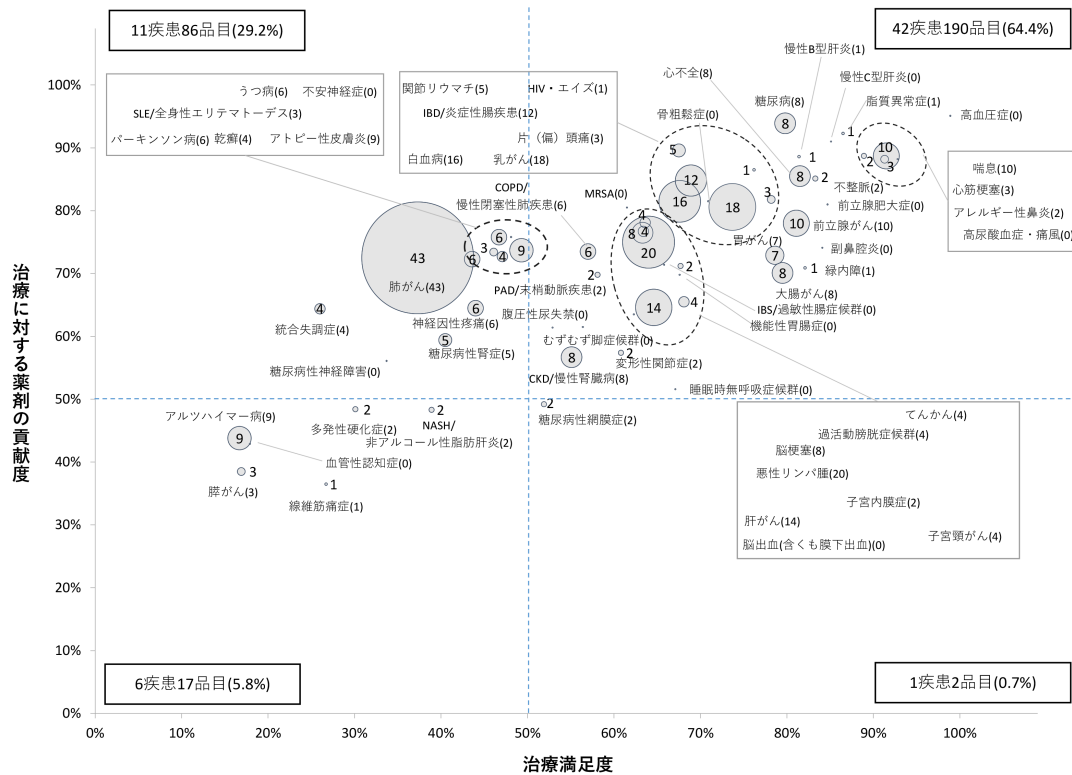
# アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況 —2019年の動向—

医薬産業政策研究所 主任研究員 橋本絵里子

医薬産業政策研究所では、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（以下、HS 財団）による医療ニーズに関する調査結果<sup>1)</sup>をもとに、新薬の

承認及び開発パイプラインに関するデータを集計し、アンメット・メディカル・ニーズに対する製薬企業の取組み状況を継続的に分析している<sup>2-6)</sup>。

図1 治療満足度・薬剤貢献度（2014年度）別にみた開発件数（2020年1月時点）



注：数字（括弧内含む）は該当新薬の開発件数を示す。  
出所：HS 財団による調査結果、各社公表情報、製薬協ホームページ、明日の新薬をもとに作成。

- 1) 公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成26年度（2014年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」
- 2) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュース No.34（2011年11月）
- 3) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認・開発状況」政策研ニュース No.38（2013年3月）
- 4) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.41（2014年3月）
- 5) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.45（2015年7月）
- 6) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュース No.52（2017年11月）

調査対象の60疾患は調査班で議論して重要と考える疾患であり、具体的には重篤な疾患、QOLを著しく損なう疾患、患者数の多い疾患、社会的に影響の大きい疾患等である。本稿では直近の治療満足度調査結果（2014年度）に基づいて、これら60疾患に対する2020年1月時点の開発パイプライン数及び2011年～2019年の薬剤承認数を示すとともに、60疾患に含まれる10のがん種に対する薬剤の承認件数の増加数と5年生存率の改善度との関係を分析する。

### 治療満足度別にみた新薬の開発状況

図1は2014年度HS財団調査における治療満足度（横軸）、薬剤貢献度（縦軸）に沿って疾患をプロットし、今回調査した開発件数を円の大きさおよび数値で示したものである<sup>7)</sup>。前回調査と同様の製薬会社20社<sup>8)</sup>の2020年1月時点における国内開発品目（フェーズ1～申請中）を集計対象とした<sup>9)</sup>。該当の開発件数は291件<sup>10)</sup>で、件数の多い順に肺がん（43件）、悪性リンパ腫（20件）、乳がん（18件）、白血病（16件）、肝がん（14件）であり、60疾患中上位5疾患ががんであり、がんにおける開発が盛んな状況である。なお、60疾患には全部で10のがん種が含まれているが、これら5つのがん種以外も見てみると、開発件数は前立腺がん（10件）、大腸がん（8件）、胃がん（7件）、子宮頸がん（4件）、膀胱がん（3件）であった。がんの中で治療満足度、薬剤貢献度ともに最も低い膀胱がんの開発件数のがんの中では最も少なく、開発の難しさが示唆される。

今回集計した開発件数291件のうち、164件が新規有効成分の開発であり、その割合は56.4%（2017年調査時71.9%）であった。がんとそれ以外の疾

患に分けてみるとがんでは新規有効成分の開発割合が46.9%、それ以外の疾患では65.7%であり、がん治療薬剤が発売後に異なるがん種や同じがん種の中でも異なる患者グループに対して効能を追加していく傾向が高いことが開発状況に反映されていた。

参考として、過去の調査から今回の調査までの疾患別開発件数の推移を表1に示す。

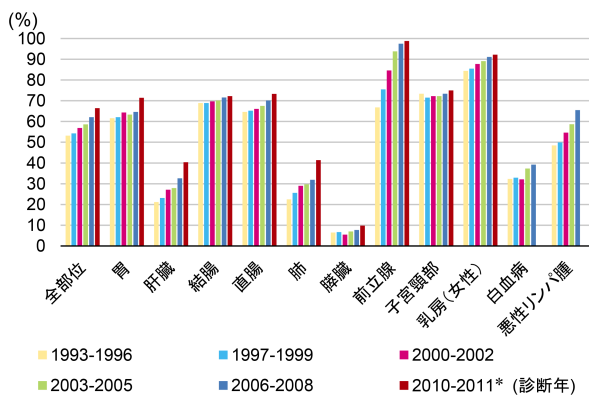
### 60疾患別にみた薬剤承認件数

2011年～2019年に新薬として承認、あるいは効能追加された薬剤のうち、2014年度HS財団調査対象の60疾患に分類できるものの件数をまとめた（表2）<sup>11)</sup>。2011年～2019年に新規承認、効能追加された薬剤について、がんについてみてみると、件数が多い順に悪性リンパ腫（27件）、肺がん（22件）、白血病（20件）などが並び、開発件数上位のがん種が承認件数においても多く確認できた。

このうち、開発数、承認数ともに件数が多かった肺がんについて薬剤の動向を見てみると、近年EGFR遺伝子変異、ALK融合遺伝子、ROS1融合遺伝子、BRAF遺伝子変異といったがんの増殖に関わる遺伝子のタイプに応じた薬剤や免疫チェックポイント阻害剤が次々と開発・承認され、さらに、他剤に耐性となったタイプへの薬剤、PARP阻害薬、抗HER2抗体といった異なるターゲットに作用する薬剤も開発が進められている。一口に肺がんといってもその遺伝子タイプなどによって最適なアプローチは異なる。細分化された各タイプに対応する治療薬の選択肢は益々増える方向にあり、より治療が個別化していくことが予想される状況であった。

7) 各疾患の該当にあたっては、当該疾患ならびに当該疾患に起因する疾患、また当該疾患の予防につながるものも含めている。  
8) 対象企業はアステラス製薬、アストラゼネカ、エーザイ、大塚製薬、小野薬品工業、グラクソ・スミスクライン、協和キリン、サノフィ、塩野義製薬、第一三共、大日本住友製薬、武田薬品工業、田辺三菱製薬、中外製薬、日本イーライリリー、日本ベーリンガー・インゲルハイム、ノバルティスファーマ、バイエル薬品、ファイザー、MSDである。  
9) データソースは各社ホームページ・決算資料、日本製薬工業協会ホームページ、明日の新薬（株）テクノミックを用いた。  
10) 60疾患に該当する複数の効能を対象にした試験があり、疾患数でカウントすると295件となる。  
11) 厚生労働省薬事・食品衛生審議会部会審議品目又は報告品目における新有効成分含有医薬品（NME）・新効能医薬品を集計対象とした。

図2 がん部位別5年生存率(相対生存率)の推移



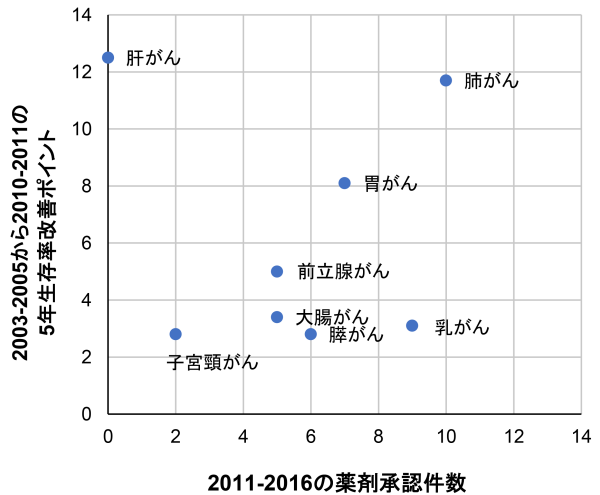
(大腸がんは結腸、直腸に分けて集計)  
出所：国立がん研究センター がん情報サービス 地域がん登録によるがん生存率データ、\*2010-2011データのみ 国立がん研究センター がん診療連携拠点病院等院内がん登録 2010-2011年5年生存率集計 報告書

がんの5年生存率の改善と承認薬剤数

新たながん治療薬の承認、既存薬の効能追加をはじめとするがん治療の進歩に伴い、がん患者さんの予後はどの程度改善されているのかについて、見てみたい。国立がん研究センターの分析データ<sup>12)</sup>によれば、がんの部位別5年生存率はこれら10のいずれの部位のがんにおいても改善傾向が見られた。(図2)現時点で最新のデータである2010年～2011年に診断された患者さんの5年生存率は全部位のがんの集計で66.4%であり、2006年～2008年に診断された患者さんに比べて4.3ポイントの改善が見られた。10疾患で見ると2010年～2011年に診断された患者さんの5年生存率が最も高かったのは前立腺がんで98.8%、最も低いのは膵がんで9.8%であった。2006年～2008年診断患者と比べて最も改善ポイント数が高かったのは肺がん(9.5ポイント改善)で、低かったのは結腸がん(大腸の一部)の0.6ポイント改善であった。

5年生存率の改善については早期診断・早期治療の普及や手術等の技術改善などが大きく影響しているため、薬剤がどの程度貢献しているか、ということは難しいが、これらががん種ごとの5年生存率の改善と承認薬剤の数との関係について分析

図3 がん部位別5年生存率の改善ポイントと承認薬剤件数の関係



を行って見た。縦軸に2003年～2005年診断患者(2011年以降に承認された薬剤が5年生存率に影響していないグループ)と2010年～2011年診断患者(2011年～2016年の承認薬剤が5年生存率に影響している可能性のあるグループ)の5年生存率の改善ポイントをがん種ごとに調べ、横軸に2011年～2016年のがん種ごとの薬剤承認件数をとって各がん種をプロットした。(図3)なお、白血病と悪性リンパ腫は2010年～2011年診断患者の5年生存率データが入手できなかったため、分析には加えていない。

薬剤が多く承認された肺がん、胃がんなどでは5年生存率の改善ポイントも大きかった。乳がんについては改善ポイントがそれほど高くないが、もともとの5年生存率が89.1%と高い値であったことがその背景として考えられる。しかし同様に元の5年生存率が93.8%と高かった前立腺がんでは98.8%とさらに大きく生存率を伸ばしていた。肝がんについてはこの期間、新たな承認薬剤がなかったが、5年生存率改善ポイントは大きかった。肝がんの主な要因はB型・C型肝炎ウイルスの持続感染であるが、B型・C型肝炎を対象疾患とした薬剤の承認件数は2011年～2016年に合計20件あった。日本肝臓学会 肝癌診療ガイドライン2017年

12) 国立がん研究センター がん情報サービス 地域がん登録によるがん生存率データ、がん診療連携拠点病院等院内がん登録 2010-2011年5年生存率集計 報告書

版によれば、「ウイルス肝炎に起因する肝細胞癌において、肝切除後や穿刺局所療法後の抗ウイルス療法は、再発抑制や生存率の向上に寄与する可能性がある。」とされており、ウイルス肝炎の治療薬が肝がんの生存率改善に間接的に貢献している可能性が示唆される。

#### おわりに

アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の2019年の開発・承認状況を調査した。

今までの調査同様、各疾患領域での活発な開発・

承認状況が確認できたが、今回は開発件数上位5疾患がすべてがんであったことから、がんに関心した検討も行った。調査対象であった10のがん種について、承認薬剤数と開発件数は似た傾向があり、血液がんや肺がんで共に多く、膵がんや子宮頸がんで低かった。これら10のがん種の5年生存率は全て上昇傾向にあり、医薬品の開発、上市がその一翼を担っていることが確認できた。一方膵がんのように治療満足度、5年生存率、開発件数ともに低い疾患もあり、さらなる医薬品の開発、診断・治療の改善が期待される。

表1 治療満足度・薬剤貢献度（2014年度）別に見た各疾患での開発件数推移（2020年1月時点）

疾患分類	疾患名	治療満足度 (2014年度)	薬剤貢献度 (2014年度)	開発件数				
				2013年1月	2014年1月	2015年5月	2017年6月	2020年1月
感染症	慢性B型肝炎	81.4%	88.6%	2	1	0	0	1
感染症	慢性C型肝炎	85.1%	91.0%	5	7	3	0	0
感染症	HIV・エイズ	76.2%	86.5%	1	1	0	1	1
感染症	MRSA	61.5%	80.5%	2	2	1	1	0
新生物	胃がん	78.6%	72.9%	12	10	12	12	7
新生物	大腸がん	79.5%	70.1%	7	9	7	7	8
新生物	肝がん	64.6%	64.6%	13	16	14	19	14
新生物	膵がん	16.9%	38.5%	3	5	2	1	3
新生物	肺がん	37.3%	72.5%	19	24	24	36	43
新生物	乳がん	73.7%	80.6%	22	19	12	18	18
新生物	子宮頸がん	68.1%	65.5%	2	2	2	3	4
新生物	前立腺がん	81.1%	78.0%	9	8	2	12	10
新生物	白血病	67.6%	81.5%	8	13	12	15	16
新生物	悪性リンパ腫	64.0%	75.0%	12	15	16	18	20
代謝疾患	糖尿病	79.8%	93.9%	30	18	12	12	8
代謝疾患	糖尿病性神経障害	33.7%	56.1%	1	1	1	1	0
代謝疾患	糖尿病性網膜症	51.9%	49.2%	3	3	0	0	2
代謝疾患	糖尿病性腎症	40.5%	59.4%	2	5	7	7	5
代謝疾患	脂質異常症	86.5%	92.3%	4	7	8	2	1
精神疾患	アルツハイマー病	16.7%	43.8%	9	10	9	17	9
精神疾患	血管性認知症	17.9%	42.9%	0	0	0	0	0
精神疾患	統合失調症	26.0%	64.4%	5	8	5	6	4
精神疾患	うつ病	46.7%	75.8%	10	12	9	6	6
精神疾患	不安神経症	48.1%	75.8%	2	2	1	0	0
精神疾患	むずむず脚症候群	56.4%	61.5%	1	0	0	0	0
神経疾患	パーキンソン病	43.6%	72.3%	3	3	4	4	6
神経疾患	多発性硬化症	30.1%	48.4%	3	3	3	1	2
神経疾患	てんかん	63.6%	78.1%	9	10	6	5	4
神経疾患	片（偏）頭痛	78.2%	81.8%	0	0	0	1	3
神経疾患	神経因性疼痛	44.0%	64.5%	3	3	5	6	6
神経疾患	線維筋痛症	26.7%	36.5%	1	1	1	1	1
眼疾患	緑内障	82.1%	70.9%	0	1	2	2	1
循環器疾患	高血圧症	98.9%	95.1%	-	-	3	1	0
循環器疾患	心筋梗塞	91.3%	88.2%	9	9	7	3	3
循環器疾患	心不全	81.5%	85.5%	4	4	7	10	8
循環器疾患	不整脈	83.3%	85.1%	4	2	1	3	2
循環器疾患	脳出血（含むも膜下出血）	62.3%	63.5%	0	0	1	0	0
循環器疾患	脳梗塞	63.3%	76.5%	5	3	8	6	8
循環器疾患	PAD/末梢動脈疾患	58.1%	69.8%	2	3	2	1	2
呼吸器疾患	副鼻腔炎	84.1%	74.1%	0	1	1	2	0
呼吸器疾患	アレルギー性鼻炎	88.9%	88.7%	5	8	5	3	2
呼吸器疾患	喘息	91.5%	88.7%	11	14	12	12	10
呼吸器疾患	COPD/慢性閉塞性肺疾患	57.0%	73.5%	6	5	7	10	6
呼吸器疾患	睡眠時無呼吸症候群	67.1%	51.6%	0	0	0	0	0
消化器疾患	機能性胃腸症	67.6%	69.8%	2	1	0	0	0
消化器疾患	IBD/炎症性腸疾患	68.9%	84.8%	13	13	9	16	12
消化器疾患	IBS/過敏性腸症候群	65.8%	71.4%	6	4	3	1	0
消化器疾患	NASH/非アルコール性脂肪肝炎	38.9%	48.3%	1	1	1	2	2
皮膚疾患	アトピー性皮膚炎	49.3%	73.7%	2	5	4	9	9
皮膚疾患	乾癬	47.1%	72.7%	7	7	6	5	4
筋骨格疾患	関節リウマチ	67.5%	89.6%	15	10	10	15	5
筋骨格疾患	高尿酸血症・痛風	92.8%	88.2%	1	1	2	0	0
筋骨格疾患	変形性関節症	60.8%	57.4%	1	1	2	1	2
筋骨格疾患	SLE/全身性エリテマトーデス	46.1%	73.4%	6	8	5	6	3
筋骨格疾患	骨粗鬆症	70.9%	81.5%	5	4	6	1	0
尿路性器疾患	CKD/慢性腎臓病	55.1%	56.7%	11	10	7	7	8
尿路性器疾患	過活動膀胱症候群	63.4%	76.7%	4	2	0	3	4
尿路性器疾患	腹圧性尿失禁	52.9%	61.4%	0	0	0	0	0
尿路性器疾患	前立腺肥大症	84.7%	81.0%	4	2	1	1	0
尿路性器疾患	子宮内膜症	67.7%	71.2%	3	3	5	2	2
合計				330	340	295	334	295

注：60疾患に該当する複数の効能を対象にした試験があるが、疾患別にそれぞれカウントしている。

出所：「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.52（2017年11月）、各社ホームページ・決算資料、日本製薬工業協会ホームページ、明日の新薬（㈱テクノミック）

表2 60疾患別にみた薬剤承認件数

疾患名	承認件数 (新有効成分含有医薬品、新効能医薬品)									総計
	2011年	2012年	2013年	2014年	2015年	2016年	2017年	2018年	2019年	
慢性B型肝炎	1	0	0	1	0	1	0	0	0	3
慢性C型肝炎	3	0	1	3	5	5	4	1	2	24
HIV・エイズ	0	1	1	1	0	2	0	2	1	8
MRSA	1	0	0	0	0	0	0	1	0	2
胃がん	2	0	1	0	4	0	1	0	1	9
大腸がん	0	0	1	1	1	2	1	0	1	7
肝がん	0	0	0	0	0	0	1	1	1	3
膵がん	2	1	1	2	0	0	0	0	0	6
肺がん	1	1	1	2	1	4	2	6	4	22
乳がん	5	0	2	2	0	0	2	3	0	14
子宮頸がん	0	0	0	0	1	1	0	0	0	2
前立腺がん	0	1	0	3	0	1	0	1	1	7
白血病	1	2	2	3	0	4	1	4	3	20
悪性リンパ腫	1	2	1	4	3	6	5	4	1	27
糖尿病	7	3	7	10	4	1	0	2	1	35
糖尿病性神経障害	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1
糖尿病性網膜症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
糖尿病性腎症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
脂質異常症	0	1	0	0	0	3	1	1	1	7
アルツハイマー病	3	0	0	0	0	1	1	0	0	5
血管性認知症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
統合失調症	0	0	1	0	0	1	0	1	0	3
うつ病	2	2	1	0	1	0	1	0	1	8
不安神経症	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
むずむず脚症候群	0	2	0	0	0	0	0	0	0	2
パーキンソン病	0	2	2	0	1	0	0	1	1	7
多発性硬化症	1	0	1	1	1	1	0	0	0	5
てんかん	1	1	1	2	2	5	1	0	0	13
片(偏)頭痛	2	0	1	0	0	0	0	0	0	3
神経因性疼痛	2	0	3	1	0	1	0	0	1	8
線維筋痛症	0	1	0	0	1	0	0	0	0	2
緑内障	0	1	0	1	0	0	0	1	0	3
高血圧症	0	1	1	0	0	0	0	0	1	3
心筋梗塞	0	1	0	1	0	1	0	0	0	3
心不全	1	0	0	0	0	1	0	0	1	3
不整脈	1	0	3	0	1	0	0	0	2	7
脳出血(含くも膜下出血)	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
脳梗塞	1	2	0	1	0	0	0	0	0	4
PAD/末梢動脈疾患	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
副鼻腔炎	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
アレルギー性鼻炎	0	0	0	1	2	2	2	0	1	8
喘息	0	0	1	2	1	2	0	1	1	8
COPD/慢性閉塞性肺疾患	1	3	0	1	2	1	0	0	2	10
睡眠時無呼吸症候群	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1
機能的胃腸症	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1
IBD/炎症性腸疾患	0	0	1	0	0	0	2	2	1	6
IBS/過敏性腸症候群	0	0	0	0	1	1	0	0	0	2
NASH/非アルコール性脂肪肝炎	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
アトピー性皮膚炎	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1
乾癬	1	0	0	1	1	3	0	2	3	11
関節リウマチ	2	3	1	0	1	0	3	2	1	13
高尿酸血症・痛風	1	0	1	0	0	0	0	0	0	2
変形性関節症	1	0	0	0	1	1	0	0	0	3
SLE/全身性エリテマトーデス	1	0	0	1	1	0	1	0	0	4
骨粗鬆症	1	0	2	0	0	1	0	0	1	5
CKD/慢性腎臓病	3	1	1	2	1	1	0	0	1	10
過活動膀胱症候群	1	1	1	0	0	0	0	1	0	4
腹圧性尿失禁	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
前立腺肥大症	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1
子宮内膜症	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1
総計	51	34	41	48	39	54	29	38	35	369

注：60疾患のうち、異なる2疾患に同一薬剤が承認された場合は別々にカウントしている。

出所：審査報告書、明日の新薬（㈱テクノミック）、New Current（㈱シーマ・サイエンスジャーナル）、各薬剤添付文書をもとに集計