

創薬の成功確率分析

—臨床試験に焦点を当てて—

医薬産業政策研究所 主任研究員 高橋洋介

はじめに

医薬品産業はハイリスク・ハイリターン型の産業であると言われている。研究開発の着手から製品の上市・販売に至るまで、10年を超える期間を要することが一般的であり、その過程において多額の研究開発投資が必要となる。さらに、「薬効が不十分であった」、「安全性面の懸念が生じた」、「市場性を欠くことが明らかとなった」など様々な要因で研究開発を断念せざるを得ないことが多く、創薬の成功確率は低いのが現状である。結果として、長期間にわたる多額の投資をまったく回収出来ないという事例も枚挙に暇がない状況であり、他産業と比較しても類を見ないほどのハイリスク産業と考えられる。

リスクの低下（≒創薬の成功確率の向上）という観点では、科学技術の進展等を背景に様々な取り組みがなされており、革新的な新薬を上市する上で一定の成果をあげている¹⁾。実際に、生活習慣病などをはじめとする様々な疾患に対する新薬が創製され、患者さんの医療ニーズを充足し、年々治療満足度は高まりつつある²⁾。この結果、近年では未充足ニーズが多い領域へと研究開発ターゲットがシフトされる傾向にあるが、これら難病・

希少疾患は一般的に創薬の難易度が高く、結果的に成功確率が低下してしまうということも考えられ、今後も当面はハイリスク型の産業であり続けるだろう。

本稿では、バイオ医薬品など様々な新規モダリティが実用化されつつある現在において、実際にはどの程度の研究開発成功率であるのか、成功確率に関わる先行研究の結果と対比しながら分析・考察することとした。

先行研究の情報整理

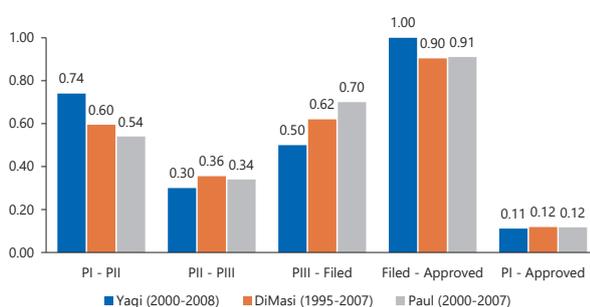
創薬の成功確率についてはいくつか先行研究があるが、包括的なレポートとして、医薬産業政策研究所の元主任研究員である八木らによる報告³⁾、DiMasiらの報告⁴⁾、Paulらの報告⁵⁾などがある。これら先行研究では、それぞれが異なる母集団からの独自のアンケート調査結果等をもとに、Phase IからPhase II、Phase IIからPhase III、Phase IIIから承認申請（Filed）及びFiledから薬事承認（Approved）における成功確率（次相移行確率）を求め、それらの積を以ってPhase IからApprovedに至る創薬の成功確率（ここでは臨床試験の成功確率を指す）を算出している。収

- 1) 医薬産業政策研究所、「新薬における創薬モダリティのトレンド－多様化／高分子化の流れと、進化する低分子医薬－」、政策研ニュース No.64 (2021年11月)
- 2) 公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団 令和2年度（2020年度）国内基盤技術調査報告書「60疾患に関する医療ニーズ調査（第6回）」【分析編】
- 3) 医薬産業政策研究所「医薬品開発の期間と費用－アンケートによる実態調査－」リサーチペーパー・シリーズ No.59 (2013年7月)
- 4) Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs. DiMasi JA, Grabowski HG, Hansen RW. J Health Econ. 2016 May; 47: 20-33.
- 5) How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. Paul SM, Mytelka DS, Dunwiddie CT, Persinger CC, Munos BH, Lindborg SR, Schacht AL. Nat Rev Drug Discov. 2010 Mar; 9 (3): 203-14.

集めたデータの対象期間は、それぞれ2000年～2008年、1995年～2007年、2000年～2007年であり、この期間に次相へ移行したプロジェクトもしくは開発を中止したプロジェクトを集計しており、プロジェクトの開始時期には条件をつけていない。八木らの報告は、日本国内の製薬企業に対するアンケート結果に基づくものであり、日本の製薬企業が国内開発した場合の成功確率と、海外で開発した場合の成功確率を区別して集計している。その他2報は欧米の製薬企業を対象とした調査結果であることから、八木らの報告からは海外での成功確率の結果を引用することとし、3報の数値を比較して図1に示した。

これら3報ではPhase I及びPhase IIIの成功確率に差が認められた。Phase Iの成功確率は八木らの報告で0.74と最も高い数値であった。この理由については、推測の域は出ないものの、日本の製薬企業の方が非臨床段階で厳格かつ精緻な篩にかけてPhase Iに進んでいる、日本国内で開発先行していたプログラムを後追いで海外Phase Iを実施する場合がある、などの理由によりPhase I成功確率が高く算出されている可能性が考えられた。一方でPhase IIIの成功確率は八木らの報告で最も低い数値となっている。少なくとも2000年代においては、海外の企業の方がPhase III成功確率が高かったものと推察される。

図1 創薬の成功確率に関する先行研究結果



出所：引用文献3、4、5に記載のデータを元に医薬産業政策研究所にて作成

近年のデータを加味した創薬成功確率算出

先行研究で用いられたデータは2000年代までのものに限定されており、必ずしも近年の成功確率を反映しているとは限らない。抗体医薬の承認取得例は、2000年代から徐々に出て来ているものの、品目数が大きく伸びたのは2010年代になってからである¹⁾。また、核酸医薬、遺伝子治療、遺伝子細胞治療、抗体薬物複合体（ADC）などの新規モダリティの実用化に関しては2010年代以降である。このことを鑑みると、モダリティの多様化に伴って、現在の創薬の成功確率は変化している可能性がある。このような背景から、医薬品パイプラインのデータベースである EvaluatePharma を用いて、創薬の成功確率の近年の状況を検討することとした。

本研究における成功確率の算出方法として、2つの手法を用いた。1つ目の方法論（Method 1とする）は、PRTS法として EvaluatePharma に標準搭載されている成功確率の算出方法である。各相における次相への移行確率（Phase Progression Probability）を以下の式により算出し、それらの積を取ることでPhase Iから承認（Approved）に至る成功確率を求める方法であり⁶⁾、これは前述の3報の先行研究とも類似の方法論である。Phase Progression Probability算出で用いるPASSもしくはFAILのベンチマーク数は、比較的近年の状況を反映した結果とすることを意図して、表1に示した期間を対象として設定されている。後期の相については十分なサンプル数を確保する

表1 Method 1でのデータ集計対象時期

Phase Progression	対象 Phase	開始時期
Phase I - Phase II	Phase I	2010年以降
Phase II - Phase III	Phase II	2005年以降
Phase III - Filed	Phase III	2000年以降
Filed - Approved	Filed	2000年以降

注：開始時期は対象Phaseの開始時期であり、例えばPhase I - Phase IIの相移行確率は、2010年以降にPhase Iを開始したものを対象に集計している

6) Evaluate社website、「Success Rates, Approach & Methodology」、<https://app.evaluate.com/ux/help/Success%20Rates%20Methodology.pdf>、(参照：2022/06/03)

目的で対象期間を長く設定されている。またこの手法では、プログラム毎にカウントしており、一つの医薬品の候補化合物（プロダクト）であっても、複数の適応疾患で臨床試験が実施されている場合には、それぞれを別カウントとして集計している。

$$\text{Phase Progression Probability} = \frac{\text{PASS}}{(\text{PASS} + \text{FAIL})}$$

PASS = Number of programs entering next phase
FAIL = Number of programs suspended from phase

2つ目の方法論（Method 2とする）は、データベースに収載されている開発の成否が明らかとなっている全プロダクト（現在開発中であるプロダクトは除く）を対象として、承認品目数の割合を求める方法論である。この手法では、プロダクト毎（≠プログラム毎）にカウントしているため、一つのプロダクトが複数の適応疾患で開発している場合には、一つでも成功例があった場合にはAPPROVEDとして一カウントしている。古いものでは、1980年代に開発されていたプロダクトから成功確率の算出に組み込んでおり、この手法で導かれる成功確率は、全期間を平均化して評価した成功確率であると捉えることが出来る。注意すべき点として、データベース上に開発中止として収載されているプロダクトには一部臨床入り前の段階で開発中止となっているものが含まれている可能性があり、この場合には成功確率を低く見積もっている可能性がある。

$$\text{Success Rate} = \frac{\text{APPROVED}}{(\text{APPROVED} + \text{FAIL})}$$

APPROVED = Number of products approved
FAIL = Number of products suspended

疾患領域別の成功確率（Method 1による）

疾患領域別に、Phase I から Approved に至る成功確率を図2 aに示し、確率算出に用いたプログラムの数（ベンチマーク数）は巻末の別表1に示した。疾患領域の分類方法に関してはEvaluate-

Pharma 上での分類基準を用いている。また、一つのプロダクトで複数の疾患領域の開発を進めているものが多数存在することから、Method 2で疾患領域別の成功確率を算出することは実施していない。

Phase I の成功確率は疾患領域別で大きな違いは認められず、概ね70%程度であった。Phase I における主要評価項目は安全性や薬物動態に関するデータであることが多く、疾患領域別で大きな違いが見られないのは妥当な結果であると考えられる。一方で、Phase II 及びPhase IIIにおける成功確率は疾患領域によって異なっており、ここでの成功確率が最終的な成功確率（臨床入りから承認まで）の高低に大きく影響していた。成功確率が低いのはCancer、Diabetes、Hepatic & biliary、Neurology、Psychiatry、Respiratoryであり、成功確率が高いのはBlood、Hormone、Infectionsであった。全疾患領域での成功確率（図中の Total が該当）は、それぞれ0.67（Phase I - Phase II）、0.36（Phase II - Phase III）、0.55（Phase III - Filed）、0.94（Filed - Approved）及び0.13（Phase I - Approved）であり、この数値は先行研究における報告値（図1）と概ね同程度であった。

以降では、成功確率が低い疾患領域について考察することとする。Diabetesに関しては、本疾患カテゴリーの中でも1型糖尿病または2型糖尿病に対する開発プロダクト及び承認済医薬品が非常に多く存在し、競合品が多く開発競争が熾烈である⁷⁾ ことに基づく市場性の問題が、成功確率の低さの一因であると考えられる。Hepatic & biliaryの疾患領域の中では、非アルコール性脂肪肝炎（NASH）もしくは非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）を適応とする開発品が過半数を占めており、この2疾患に絞った場合の成功確率はわずか3%程度に過ぎず（データ割愛）、この2疾患に対する創薬難易度の高さが本領域の成功確率の低値に起因していた。その他のCancer、Neurology、Psychiatry、Respiratoryにおける成功確率の低さ

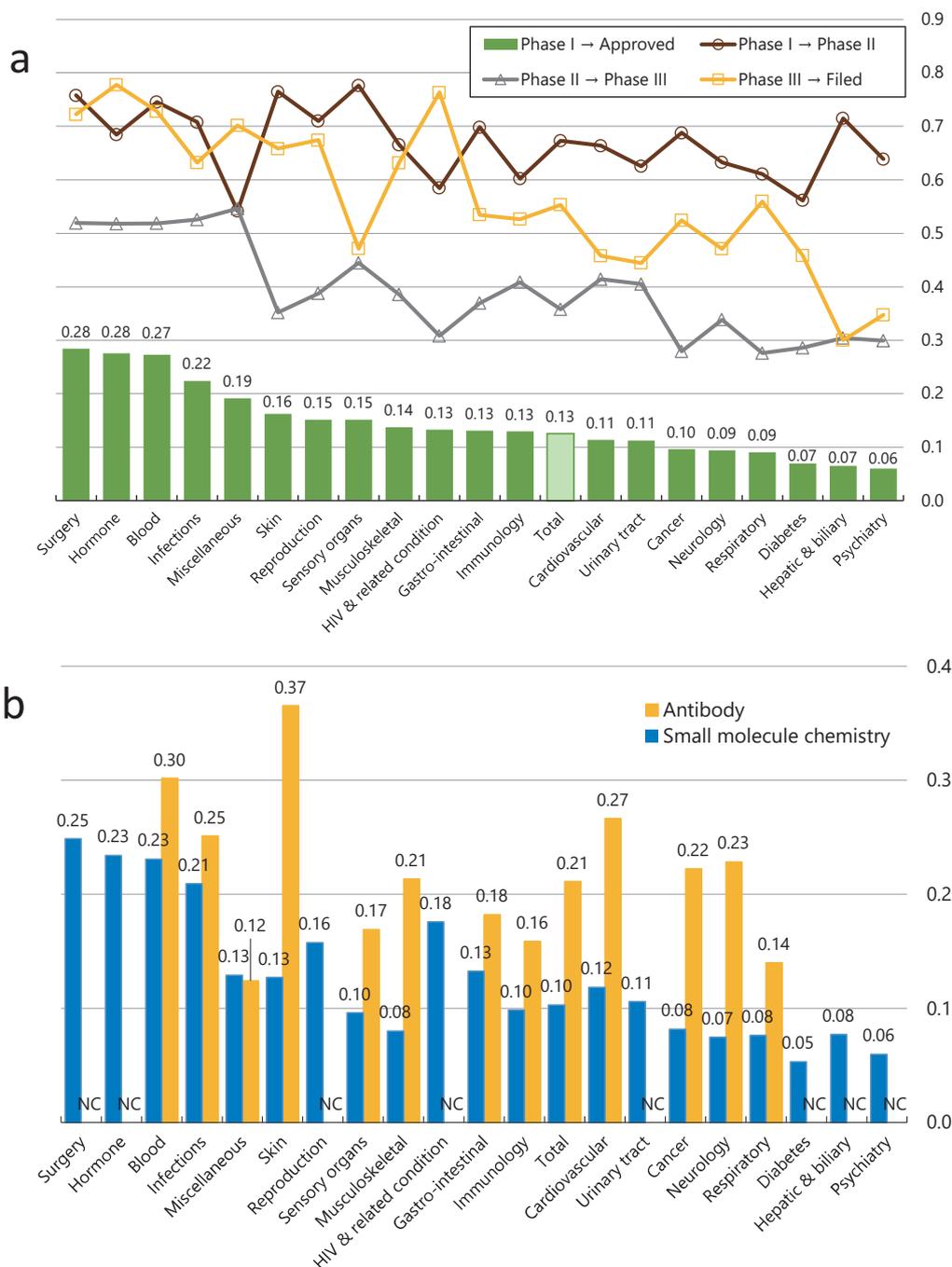
7) AnswersNews、「糖尿病治療薬 開発競争、一転下火 - 製薬各社 照準は糖尿病性腎症にシフト」、<https://answers.ten-navi.com/pharmanews/10546/>、(参照：2022/06/08)

は、実際の病態を反映した非臨床動物モデルの構築が未解決、疾患概念に対してヘテロな患者層から構成されている、疾患バイオロジーの理解が不十分である、標的組織への医薬品の送達が困難である、このような課題を有する創薬難易度が高い

疾患が数多く含まれていることなどが要因として考えられる。

また、比較的実用化例の多い低分子化合物及び抗体医薬に関しては、当該モダリティに限定した疾患領域別の成功確率を図2bに示し、確率算出に用

図2a、2b 疾患領域別の成功確率 (Method 1より算出)



注：疾患分類は Evaluate 社の定義にもとづく

注：抗体医薬の成功確率の算出において、Diabetes、Hepatic & biliary、HIV & related condition、Hormone、Psychiatry、Reproduction、Surgery、Urinary tract に関しては、Approved の数が3以下とサンプル数が少ないことから、確率算出からは除外した (NC: Not Calculated)

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成 (2022年6月3日時点)

いたプログラム数は別表2及び別表3に示した。総じて、抗体医薬の方が低分子医薬に比して成功確率が高い傾向にあり、Skin、Musculoskeletal、Cardiovascular、Cancer、Neurologyにおいては2倍以上の成功確率であった。Skin領域における抗体医薬の成功確率の高さを分析すると、本領域の中では乾癬治療薬のプログラムが数多く存在し、その多くがPhase III試験で成功していることが特徴的であり（データ割愛）、全体の成功確率を高めていた。同様にMusculoskeletalの領域について分析すると、抗体医薬では関節リウマチや乾癬性関節炎のプログラム数が多く、これらの多くが全疾患領域での水準を上回る確率で臨床試験に成功し（データ割愛）、成功確率を高めていた。これらに共通するのは免疫反応を抑制することによって疾患治療を企図した医薬品ということであり、抗体医薬によって細胞表面の分子を標的とする創薬アプローチが適合しやすい疾患が多く存在しているのではないだろうか。Cancerに関しては、血液がんよりは固形がんが成功確率が高く、固形がんの中では膀胱がんや非小細胞性肺がんなどで水準を上回る成功確率であったことが確認出来たが（データ割愛）、成功確率の高さにつながる本質的な要因を見出すことは困難であった。Cardiovascularの領域では家族性高コレステロール血症や脂質異常症において成功例が多く、Neurologyの領域では視神経脊髄炎や片頭痛において成功例が多く、これらが成功確率の高さを牽引していたが（データ割愛）、上記と同様に本質的な成功確率の高さの原因を見出すことは困難であった。

モダリティ別の成功確率（Method 1による）

Method 1によって、モダリティ別の各Phaseにおける成功確率及びPhase Iから承認（Approved）に至る成功確率を算出し、図3a、図3b及び表2に示した。また、確率算出に用いたプログラムの数

（ベンチマーク数）は巻末の別表4に示した。なお、モダリティの分類方法に関してはEvaluatePharmaでの分類基準を参考とした⁸⁾。

Phase Iの成功確率は概ねどのモダリティも7割程度であったが、遺伝子治療においてやや高く、8割超という結果であった。遺伝子治療のPhase I成功確率の算出に用いたベンチマークを精査すると、難病・希少疾患を対象としたプログラムが多く、これらではFirst in Human試験が患者を対象としたPhase I/II試験と実施されているケースが複数存在していた（データ割愛）。このようなケースでは、Phase IをPassしてPhase IIへと進んだとして解析しているため（言い換えると、Phase I/II試験の成否はPhase II試験の結果として集計している）、このことが見かけ上のPhase I成功確率を高めている可能性がある。

Phase IIの成功確率は、いずれのモダリティにおいても他のPhaseの成功確率に比べて総じて低く、研究開発を進めていく上でもっともドロップしやすいという結果であった。この結果は図1で示した先行研究における結果とも類似していた。

Phase IIIの成功確率はモダリティ間での差が大きく、低分子化合物では概ね0.5であった。成功確率が高いのは、抗体医薬、遺伝子細胞治療、その他（Others）であった。抗体医薬については、モダリティとして成熟期を迎えており、創薬ストラテジーが確立したことで成功確率が高まっているのではないかと考えられる。遺伝子細胞治療の成功確率の高さに関しては、現時点ではサンプル数が少ない（別表4参照）ために断定的なことは言えないものの、Phase IIまでの臨床試験で顕著な有効性が確認出来たことに基づき、確度の高いPhase III試験を計画出来ていたのではないかと推察出来る。

Phase I開始からApprovedに至る成功確率は、全モダリティを総計すると約13%であった。全モ

8) EvaluatePharmaにおける技術分類（括弧内に記載）をもとに、Monoclonal antibody及びRecombinant antibodyを合わせてAntibodyとして、以下に示す通りに再分類した。

低分子医薬：Small molecule chemistry、抗体医薬：Antibody、組換えタンパク：Protein & peptide therapeutics、ワクチン類：Vaccine、細胞治療：Cell therapy、核酸医薬：DNA&RNA therapeutics、遺伝子細胞治療：Gene-modified cell therapy、遺伝子治療：Gene therapy、腫瘍溶解性ウイルス：Oncolytic virus、その他：Others

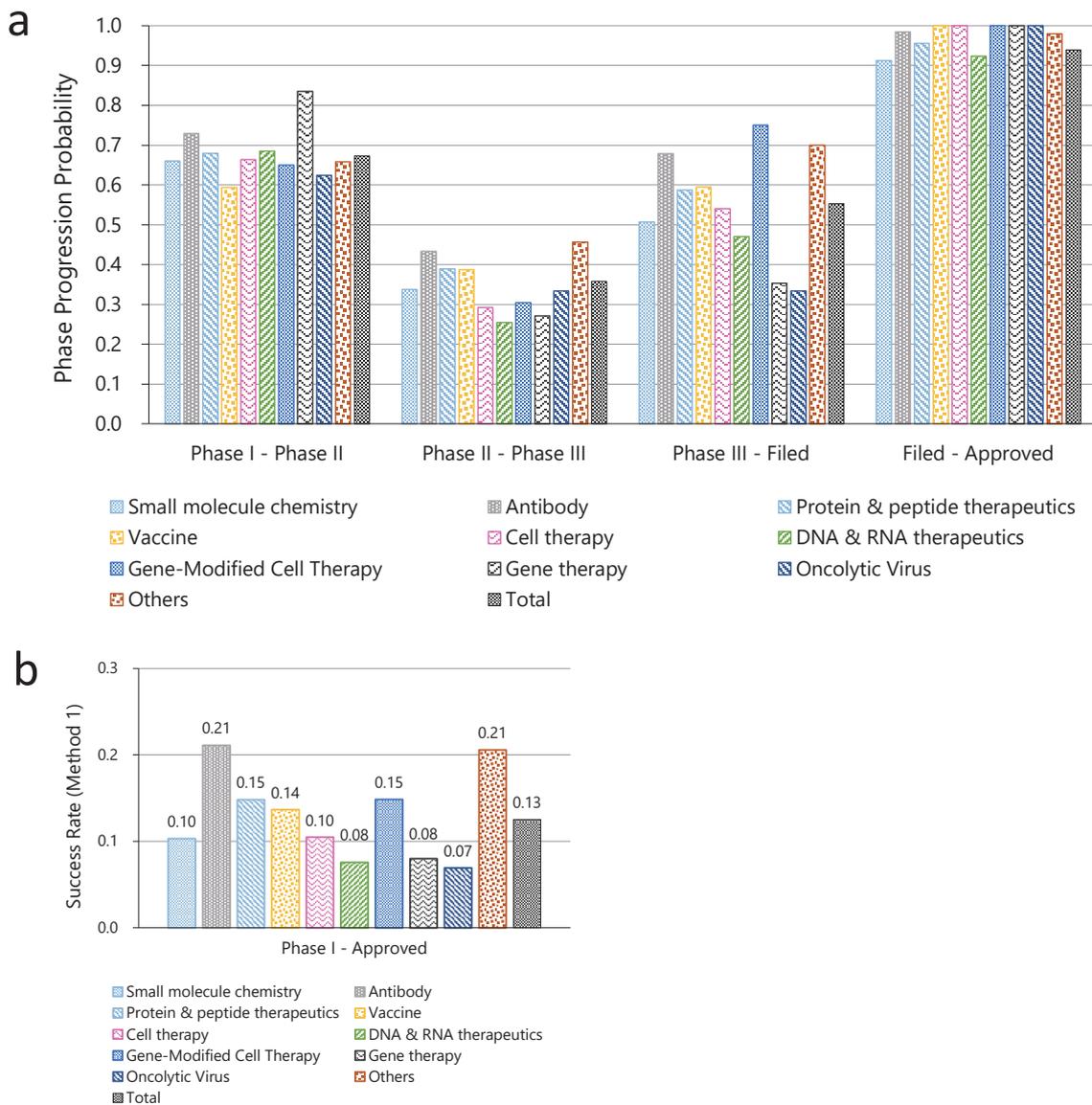
ダリティの過半数を占める低分子医薬では約10%の成功確率で全体をやや下回っていた。抗体医薬では約21%と比較的高い成功確率であり、本研究におけるモダリティの分類方法に従うと最も高い成功確率を誇っていた。Othersの成功確率は約21%と高い数値であるが、ここには様々な種類のモダリティ（天然物、ゲノム編集など）が含まれている中で、診断薬や血漿分画製剤の成功確率が高く（データ割愛）、Others全体としての成功確率を高めているという結果であった。

モダリティ別の成功確率（Method 2による）

Method 2によってモダリティ別の成功確率を算出した結果を図4に示した。Method 2では、データベースに収載されている全プロダクトに対して、承認数と開発中止数の合計に対する承認数の割合を算出しているため、Phase毎の成功確率ではなく、全開発期間を通じた成功確率のみが算出可能となる。

全モダリティを合算した場合の成功確率は約12%であった。全モダリティの過半数を占める低分子に関しては約12%の成功確率であった。一方で、

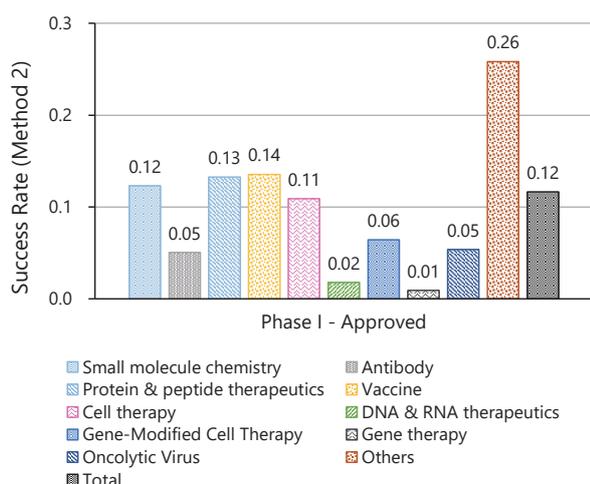
図3a、3b モダリティ別の成功確率（Method 1による）



注：モダリティ分類は Evaluate 社の定義にもとづく

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年6月3日時点）

図4 モダリティ別の成功確率 (Method 2による)



注：モダリティ分類は Evaluate 社の定義にもとづく
 出所：EvaluatePharmaをもとに医薬産業政策研究所にて作成 (2022年6月3日時点)

抗体医薬、核酸医薬、遺伝子細胞治療、遺伝子細胞治療などの成功確率はいずれも顕著に低い数値であり、近年実用化され始めたモダリティであるほど低い数値となる傾向であった。また、Method 1の場合と同様に、Othersの成功確率は約26%と高い数値であり、ここに含まれる診断薬や血漿分画製剤の成功確率の高さが牽引していた（データ割愛）。

モダリティ別の成功確率 (Method 1及び Method 2の比較)

Method 1及び Method 2において算出したモダリティ別の成功確率を表2に示した。Method 1は、前述の通りの期間を対象にベンチマークを設定して成功確率を算出しているため、比較的近年の状況を反映した成功確率と考えられる。一方で、Method 2はデータベースに収載されている全データを対象としているため、古く（1980年代）から直近に至るまでの全期間を対象とした成功確率であると読み替えることが出来る。

低分子に関しては、いずれの分析方法においても10%程度の成功確率であり、常時この程度の数値で安定しているのではないかと考えられる。

図1では先行研究における成功確率を示しているが、2000年代に実施された先行研究で対象としている医薬品の90%以上は低分子であることから、今回の分析において低分子の成功確率が10%程度であったという結果は、先行研究のPhase I～Approvedまでの成功確率と同程度であり、一貫した結果であった。

創薬モダリティ毎に成功確率を評価した結果、Method 1と Method 2では成功確率の異なるモダリティが複数存在しており、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療及び遺伝子細胞治療においては、Method 2での成功確率は著しく低いという結果であった。抗体医薬に関しては、全期間の成功確率 (Method 2) は非常に低い数値となっているが、近年の成功確率 (Method 1) は低分子医薬のそれよりも高い数値となっている。この原因は、抗体医薬というモダリティの黎明期において数多くの失敗例が存在していた一方で、そこから得た知見やノウハウなどを活用することで徐々に技術的に成熟し⁹⁾、現在は創薬モダリティとしての収穫期に至り、近年の高い成功確率につながってきたのではないかと考えられる。同様の観点で、2010年代後半から実用化例の増えてきている核酸医薬、遺伝子治療、遺伝子細胞治療などのいわゆる新規モダリティの状況を見してみる。全期間の成功確率 (Method 2) は非常に低い数値となっている一方で、近年の成功確率 (Method 1) はやや高い数値であり、低分子医薬よりやや低いもしくは同等以上となってきている。このことから、これらモダリティはまさに黎明期を抜けようとしているところであると考えられ、今後数多くの革新的な医薬品へと応用されることを期待したい。

抗体医薬と遺伝子細胞治療に関しては、近年の成功確率 (Method 1) が低分子医薬を大きく上回っており、特に成功確率が高いモダリティとして注目に値する数値である。2021年にはBIO、Informa Pharma Intelligence、QLS Advisorsによる共著のレポートが発刊され、ここではMethod 1と類似の手法によって算出されたモダリティ別の成功

9) 山崎達美、「バイオ医薬の研究開発の経験から見えたこと」、生物工学会誌 第94巻 第9号

表2 モダリティ別成功確率（2手法比較）

Modality	Success Rate	
	method 1	method 2
Small molecule chemistry	0.10	0.12
Antibody	0.21	0.05
Protein & peptide therapeutics	0.15	0.13
Vaccine	0.14	0.14
Cell therapy	0.10	0.11
DNA & RNA therapeutics	0.08	0.02
Gene-Modified Cell Therapy	0.15	0.06
Gene therapy	0.08	0.01
Oncolytic Virus	0.07	0.05
Others	0.21	0.26
Total	0.13	0.12

注：モダリティ分類は Evaluate 社の定義にもとづく
 出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 (2022年6月3日時点)

確率が報告されている¹⁰⁾。モダリティの分類方法や分析に用いたデータの対象期間が異なるために厳密な比較は出来ないものの、ここでは CAR-T や siRNA/RNAi、モノクローナル抗体の成功確率が高いというデータが示されており、一部の新規モダリティでは成功確率が高まっていることが読み取れる。

まとめと考察

製薬産業が直面している創薬リスクを理解・把握するために、研究開発の成功確率の現状を調査するとともに、疾患領域別や、創薬モダリティによる成功確率の差を考察した。

本稿では Phase I 以降の成功確率の分析を行ったが、実際には基礎研究着手時から Phase I に至

るまでの初期過程で研究開発を断念するケースも相当数存在する。このことを考慮に入れると、実質的な成功確率は本稿で示した数値より遥かに低いものと推察される。一連の調査の結果として、新規モダリティでは当該モダリティの黎明期において特に成功確率が低い傾向が見て取れたが、COVID-19パンデミック下で mRNA ワクチンのような新規モダリティが多大な貢献を果たしたことに代表されるように、新規モダリティの医療貢献やその社会へのインパクトは非常に大きいことが明確となっており、長期的な観点から研究開発を進める重要性・必要性がある。

成功確率が著しく低い中で、創薬をビジネスとして成立させ、革新的な新薬を次々と創製出来る環境を整えるためには、道半ばで開発中止せざるを得なかった数多くのプロジェクトに対する多額の研究開発投資を、成功した一部の革新的新薬からもたらされる利益によって回収出来ることが必須であり、これを可能とするような薬価制度・社会保障制度・税制などによる下支えが重要であるだろう。また、当然のことながら成功確率を高めるための取組みも重要であり、特にアカデミアを中心とした基礎研究の活性化を支援する施策も講じる必要があるだろう。

製薬産業が、官や学などのステークホルダーと密に連携し、リスクの低減方法や分散方法などを学術面・規制面それぞれから検討し、より良い未来の創造へと貢献出来ることを期待しながら、本稿を閉じたいと思う。

10) Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011–2020, https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf, (参照：2022/06/08)

別表1 疾患領域別の成功確率算出に用いたベンチマーク数（全モダリティ）

Indication area	Bench Mark Number							
	Phase I → Phase II		Phase II → Phase III		Phase III → Filed		Filed → Approved	
	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail
Blood	269	92	195	181	99	37	95	3
Cancer	4134	1879	1230	3175	355	322	327	14
Cardiovascular	343	174	288	407	98	116	95	10
Diabetes	224	175	111	277	33	39	34	2
Gastro-intestinal	273	118	153	261	54	47	56	3
Hepatic & biliary	208	83	52	119	6	14	5	0
HIV & related condition	83	59	45	101	29	9	28	1
Hormone	39	18	29	27	14	4	12	0
Immunology	342	226	181	262	60	54	59	0
Infections	886	366	621	560	218	127	220	11
Miscellaneous	293	248	207	172	94	40	83	7
Musculoskeletal	326	164	204	325	84	49	72	13
Neurology	738	429	368	719	129	145	125	9
Psychiatry	189	107	111	260	41	77	39	4
Reproduction	88	36	69	109	31	15	27	6
Respiratory	306	195	141	370	47	37	46	2
Sensory organs	260	75	181	226	41	46	41	3
Skin	438	135	221	407	77	40	67	6
Surgery	25	8	27	25	13	5	12	0
Urinary tract	145	87	79	116	16	20	15	0
Total	9609	4674	4513	8099	1539	1243	1458	94

注：疾患領域分類は Evaluate 社の定義にもとづく

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年6月3日時点）

別表2 疾患領域別の成功確率算出に用いたベンチマーク数（低分子医薬）

Indication area	Bench Mark Number							
	Phase I → Phase II		Phase II → Phase III		Phase III → Filed		Filed → Approved	
	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail
Blood	118	41	79	96	42	16	39	2
Cancer	2075	909	669	1970	200	203	188	13
Cardiovascular	214	133	211	258	80	88	79	9
Diabetes	142	125	84	196	19	33	21	2
Gastro-intestinal	172	81	111	176	35	31	39	2
Hepatic & biliary	166	62	47	93	6	13	5	0
HIV & related condition	37	23	34	53	25	8	26	1
Hormone	22	11	14	15	8	3	7	0
Immunology	141	104	71	111	18	23	17	0
Infections	442	161	305	271	108	77	109	9
Miscellaneous	134	158	114	93	39	25	31	6
Musculoskeletal	161	95	95	185	30	25	20	9
Neurology	507	351	266	581	96	122	96	9
Psychiatry	175	103	106	248	41	76	39	4
Reproduction	72	27	54	96	28	11	26	5
Respiratory	187	127	79	248	30	23	30	2
Sensory organs	143	41	108	146	18	35	18	3
Skin	273	98	148	289	44	32	37	5
Surgery	10	6	14	8	5	3	4	0
Urinary tract	90	64	54	89	12	13	11	0
Total	5281	2720	2663	5222	884	860	842	81

注：疾患領域分類は Evaluate 社の定義にもとづく

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年6月3日時点）

別表3 疾患領域別の成功確率算出に用いたベンチマーク数（抗体医薬）

Indication area	Bench Mark Number							
	Phase I → Phase II		Phase II → Phase III		Phase III → Filed		Filed → Approved	
	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail
Blood	46	15	26	26	8	2	8	0
Cancer	1189	456	384	524	120	45	104	0
Cardiovascular	30	4	21	24	11	6	11	0
Diabetes	26	7	4	22	2	1	1	0
Gastro-intestinal	57	15	29	43	12	9	11	0
Hepatic & biliary	11	4	2	12	0	1	0	0
HIV & related condition	12	2	3	0	2	0	1	0
Hormone	5	0	1	3	1	0	1	0
Immunology	115	54	63	76	18	17	17	0
Infections	110	23	60	45	18	14	17	1
Miscellaneous	20	22	12	11	3	3	4	0
Musculoskeletal	73	32	56	64	31	13	28	2
Neurology	74	27	33	39	17	8	13	0
Psychiatry	2	0	0	1	0	0	0	0
Reproduction	1	2	0	0	0	0	0	0
Respiratory	50	31	23	53	9	3	9	0
Sensory organs	34	10	21	33	9	7	9	0
Skin	91	21	41	40	18	1	15	1
Surgery	1	0	1	2	0	0	0	0
Urinary tract	23	6	11	17	2	3	2	0
Total	1970	731	791	1035	281	133	251	4

注：疾患領域分類は Evaluate 社の定義にもとづく

注：Diabetes、Hepatic & biliary、HIV & related condition、Hormone、Psychiatry、Reproduction、Surgery、Urinary tract に関しては Approved の数が3以下であり、サンプル数が少ないと判断し確率算出からは除外した

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年6月3日時点）

別表4 モダリティ別の成功確率算出に用いたベンチマーク数（Method 1）

Modality	Bench Mark Number							
	Phase I → Phase II		Phase II → Phase III		Phase III → Filed		Filed → Approved	
	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail	Pass	Fail
Small molecule chemistry	5281	2720	2663	5222	884	860	842	81
Antibody	1970	731	791	1035	281	133	251	4
Protein & peptide therapeutics	628	297	356	558	135	95	128	6
Vaccine	541	371	293	464	94	64	97	0
Cell therapy	288	146	100	242	20	17	19	0
DNA & RNA therapeutics	213	98	60	176	16	18	12	1
Gene-Modified Cell Therapy	206	111	35	80	9	3	8	0
Gene therapy	172	34	39	105	6	11	4	0
Oncolytic Virus	58	35	9	18	1	2	1	0
Others	252	131	167	199	93	40	96	2
Total	9609	4674	4513	8099	1539	1243	1458	94

注：モダリティ分類は Evaluate 社の定義にもとづく

出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年6月3日時点）

別表5 モダリティ別の成功確率算出に用いたプロダクト数 (Method 2)

Modality	Product Number	
	APPROVED	FAIL
Small molecule chemistry	2133	15187
Antibody	147	2769
Protein & peptide therapeutics	253	1657
Vaccine	333	2128
Cell therapy	70	572
DNA & RNA therapeutics	14	769
Gene-Modified Cell Therapy	12	175
Gene therapy	5	547
Oncolytic Virus	3	53
Others	284	794
Total	3254	24673

注：モダリティ分類は Evaluate 社の定義にもとづく

FAIL の数には、一部臨床入り前段階での開発中止プロダクトを含んでいる可能性がある
出所：EvaluatePharma をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2022年4月時点）