

政策研ニュース No.44

OPIR Views and Actions

2015年3月

目次

Opinion

オープン・イノベーションの光と影 医薬産業政策研究所 客員研究員 岡田 羊祐……1

Points of View

- ビッグデータ活用に望まれる基盤整備 –医療分野の現状と課題–
医薬産業政策研究所 統括研究員 森田 正実……4
- アカデミア発医薬品を創出するために
–医師主導治験の活用による薬事承認取得事例を踏まえ–
医薬産業政策研究所 主任研究員 渋谷 勝一……13
- 承認審査に係る改善要望の分析 –新薬の臨床開発と審査期間調査（2013年実績）から–
医薬産業政策研究所 主任研究員 加賀山貢平
東京大学大学院薬学系研究科 准教授 小野 俊介……17

Topics

- 低分子医薬品とバイオ医薬品の研究開発状況
医薬産業政策研究所 主任研究員 古賀 祐司……21
- アンメット・メディカルニーズの高い難治性神経疾患治療薬の開発動向
医薬産業政策研究所 主任研究員 金子 聡……25

目で見える製薬産業

- 新薬の再審査期間中の全例調査条件解除状況
医薬産業政策研究所 主任研究員 藤川 誠……28
- 主要基礎・臨床医学論文掲載数の国際比較
医薬産業政策研究所 主任研究員 金子 聡……30
- 医薬品産業における女性研究者の活用状況 –女性博士人材の活躍–
医薬産業政策研究所 主任研究員 白神 昇平……32

政策研だより

- 主な活動状況（2014年11月～2015年2月）……35
- レポート・論文紹介（2014年11月～）……36

オープン・イノベーションの光と影

医薬産業政策研究所 客員研究員 岡田羊祐*

近年、政府機関をはじめ、民間企業やシンクタンクによる政策提言のなかに、〈オープン・イノベーション〉という言葉が溢れるようになった。いかにも専門的に聞こえるが、実は意味が不明確なままに世間で通用しているこの言葉の意義と課題について、科学と技術の相互連関という視点から検討してみたい。

オープン・イノベーションとは

オープン・イノベーションとは、ごく簡単にいえば、企業・大学・政府など多様な主体を繋ぐオープンなプラットフォームを介して知識の共有化を図り、それによってイノベーションを促進しようとするものである。この考え方によれば、オープンなプラットフォームを活用することによってイノベーションのスピードを上げることができると主張される。また、プラットフォームを構成するネットワークとして、産業・大学・政府による産学官連携の重要性が強調されることも多い。

科学と技術：インセンティブの違い

科学と技術という言葉は、通常、基礎に近い段階を「科学」、実用化に近い段階を「技術」と呼ぶ。また「科学技術」とまとめて記述されることも多い。しかし、ここでは、具体的な研究・開発の内容は問わず、それに従事する者の〈インセンティブ〉に着目して区別することとしたい。すなわち、知識の創造・発見に伴う知的好奇心の充足、根源的理解への欲求、また名誉やプライオリティ

を重んじるのを〈科学者〉(scientist)と呼び、研究開発による企業収益や社会的課題に対する具体的な解決法などといった実用性を重んじるのを〈技術者〉(engineer または technologist)と呼ぼう。もちろん同じ人が科学者の顔と技術者の顔を合わせ持ち、時と場合に応じて使い分けている場合もあるだろう。この分類は、あくまでも議論の筋道を明確にするための単純化である。

線形モデルと連鎖モデル

イノベーション・プロセスについては、これまで多くのモデルが提案されてきた。まず、古典的な見方として、基礎→応用→開発という一方向の流れに従ってイノベーションが進行するという「線形モデル」(linear model)がある。この見方は過度に単純化されたものであるが、個々の事例をみるとリアリティのある場合もある。例えば、電気機械産業は、19世紀の電気の発見以来、電気工学をはじめとする科学研究を基礎に発展してきた。この見方によれば、新しい科学が新しい技術を生み、科学はそれ自体に固有のロジックに従って発展し、技術は科学の派生物・副産物とみなされる。

一方、産業上や生活上の必要性から新しい技術が誕生し、それをよりよく理解し改善するために科学研究が触発されることもある。ときには、技術がまったく新しい学問分野を生み出すこともある。例えば、蒸気機関の発明が熱力学を、化学工業の発展がケミカル・エンジニアリングを、ま

*一橋大学大学院経済学研究科教授（専門分野：産業組織論、競争政策、イノベーション政策）

たライト兄弟による飛行機の発明が航空力学を登場させたように、である。このような見方は「連鎖モデル」(chain-linked model)と呼ばれている。

連鎖モデルとは、イノベーション・プロセスのステージごとに、複線的な情報のフィードバック・ループが、企業の境界を越えて織り込まれたモデルである。オープン・イノベーションは、この連鎖モデルをさらに発展させたモデルと位置付けることができるだろう。

このように、科学と技術は相互に複雑に絡み合っている。そもそも「科学」とは、「学を分ける」、「学問を細分化する」という語義をもつ。科学と技術は、細かく分岐しつつ、連鎖モデルに従って複雑に絡み合いながらダイナミックに生成されていくのである。このダイナミクスを通して、大学や公的研究機関から生み出される科学研究の成果もイノベーションに貢献しているといえるだろう。

科学者と技術者の行動規範の違い

しかし、科学研究における「オープン・サイエンス」、「プライオリティ優先」というアカデミア特有の行動規範と、技術開発における「ミッション志向」、「商用化・専有化志向」というビジネス上の行動規範は、本来、水と油のように相性が悪いものではないだろうか。

科学者が各々の好奇心に従って自律性をもってアジェンダを設定することは、研究のモチベーションを維持するために必須の条件である。また、科学研究の不確実性は、先端的な分野ほど高いのであるから、多様な研究プロジェクトが並行して実施されることが望ましい。問題は、限られた資金制約のなかで、研究の多様性をどの程度まで確保するかである。科学の世界では集約化・重点化が望ましいわけでは決していない。

研究資源の集中化：マタイ効果

一部の優秀な研究者に資金が集中するという傾向は世界中で広く見られる現象である。これは聖書の警句にならって「マタイ効果」(Matthew effect)と呼ばれている。「おおよそ、持っている人は与えられて、いよいよ豊かになるが、持ってい

ない人は、持っているものまでも取り上げられるであろう」(マタイ福音書第13章12節)というわけである。近年の日本でも、一部のスター科学者に研究資金が集中する傾向が顕著である。

さらに日本では、大学の研究費配分においても、グローバルCOEとかスーパーグローバルCOEとか、何やら気恥ずかしくなるような名称を冠しながら、重点化が進められている。これは、研究者の流動性が低いまま、科研費など個別研究者向けの研究費枠を削減しつつ、大学単位で研究費の重点配分を図るという、まことに筋の悪い政策である。日本では、大学・研究機関の間に固定化した序列が厳然として残ったまま、機関単位でマタイ効果が強まる傾向にあるといえるだろう。

ごく一部の優秀な研究者に多くの資金が配分される助成プログラムは、優れた研究成果がいち早く社会に広められるという点では有益である。しかし、公的資金の助成が研究を刺激するのは、その受け入れ側に資金制約が強く効いている場合である。研究資金に恵まれていないが将来性あるアイデアをもつ若い研究者に、幅広く助成が行き渡るような仕組みをもっと工夫する必要があるのではないだろうか。

私的収益率と社会的収益率の格差

一方、ミッション志向・専有化志向の強い民間企業や一部の公的研究機関では、研究開発の資金配分に際して、高い収益率が期待できる分野をいかに見出すかに高い関心をもつだろう。しかし、民間企業と政府が各々想定する研究開発投資の収益率は、原理的に一致しないことに注意すべきである。民間企業は、自ら専有化できる利益(私的収益率)を重視する。一方、国民の負託にこたえなければならない政府は、社会が享受できる利益(社会的収益率)を重視する。ここで知識の公共財的特性に照らして考えれば明らかのように、社会的収益率は私的収益率を常に上回っている。この差を、経済学では「専有可能性」(appropriability)と呼んでいる。公的部門と私的部門は、ともに高い収益率に無関心というわけでないにも拘らず、将来の期待収益率について異なる見解をもつこと

になるのである。このように、研究開発成果の価値評価が非対称的となっている状況の下では、オープンなプラットフォームにおける技術取引市場が機能することはそれだけ難しくなる。

オープン・イノベーションが機能する条件

以上の検討から明らかなように、オープン・イノベーションが効果を持つためには、①個々の研究者・技術者のインセンティブと整合性を保ちつつ、オープンなプラットフォームに知識が蓄積されること、および、②蓄積された知識ストックが、組織の境界を越えて、スムーズに転々流通する技術取引市場の仕組みが整備されること、の二点が必要である。

さらに付け加えるならば、オープン・イノベーションでは、組織のカベを越えて形成されるインフォーマルなリサーチ・ネットワークの価値に十分な注意が払われるべきである。知識の移転は、特許ライセンスのような技術市場以外に、教育活動、学術論文、学会や研究会等における報告、コンサルティングなど、多様なルートで行なわれるのが通常である。このようなインフォーマルな知識の移転ルートが多様に存在する意義を過小評価してはならない。

プロ・パテントと訴訟リスク

最後に、オープン・イノベーションを制約する要因として、特許制度の問題に触れておきたい。近年、プロ・パテントがグローバルな広がりを持つようになり、先進国・新興国を問わず、民間企業・大学・公的研究機関による特許出願が急増している。また、特許に依拠した大学発ベンチャーの創業支援も本格化している。

しかし、イノベーションのパフォーマンスは、特許の権利化を奨励することによって常に高められるわけではない。むしろ、近年では、行き過ぎた権利化の弊害が指摘されるようになっている。例えば、自ら事業を行わない patent assertion entities (PAEs) と呼ばれる特許管理会社への特許集積が進み、訴訟リスクが高まっている。多くの日本企業や大学・公的研究機関が、「パテント・

コントロール」とも呼ばれる特許管理会社から大量の警告状を受け取ったり、和解を強要されたり、あるいは訴訟を提起されたりする事例が増えている。特許管理会社の組成するファンドの真の資金提供者が誰なのかが不透明であることも、事態を複雑で困難なものにしている。

このような訴訟リスクの高まりは、オープン・イノベーションの副作用といえるかもしれない。一方では、産学官連携の実を上げるためには研究成果の帰属先が明確となっている必要がある。知的財産の権利関係の明確化がその移転コストを低減させるというパイ・ドール法にみられるようなプロ・パテントの考え方にも、それなりの合理性がある。しかし他方で、近年、特許要件が緩く、特許範囲も広く、相互に抵触する特許が急増していることによって、オープン・イノベーションを取り巻く状況をきわめて困難なものにしている。新しい創薬技術が次々と生まれるなか、製薬産業もこのような訴訟リスクと無縁ではいられなくなるだろう。むしろ、すでに顕在化しつつあるというべきかもしれない。

最新技術を利用した創薬研究では、個々の企業が研究開発に必要な知識・能力をすべて自前で備えることは難しくなっている。したがって、こうした分野では、統合型あるいはコングロマリット型の研究開発組織よりも、様々な組織間の柔軟な連携を可能とするオープン・イノベーションを志向する根拠も十分にあるといえる。

しかし、オープン・イノベーションが適切に機能するためには、科学者・技術者の行動規範の整合性、インフォーマルなリサーチ・ネットワークを含む健全な技術取引市場の整備、および頑健な特許制度が必要であることを忘れてはならない。オープン・イノベーションを「魔法の言葉」として扱うことなく、細部にわたってPDCAサイクルが働くことによって、日本でもオープン・イノベーションが高い成果を生むようになることを期待したい。

ビッグデータ活用に望まれる基盤整備 ー医療分野の現状と課題ー

医薬産業政策研究所 統括研究員 森田 正実

Big Dataという言葉は2010年に英国エコノミスト誌で発出し、米国政府がこの言葉を使ったことで一気に広がった。たった5年ほどの間に世界中の政府も民間も、施策やビジネスの戦略戦術にビッグデータ活用を唱えるようになっている。

ビッグデータが従前の大量データとは異なるその特徴は、まずデータ量の圧倒的な巨大さ（Volume）である。そしてデータの種類の豊富さ（Variety）、さらにリアル性を持つデータで分析のスピードが問われるもの（Velocity）とされている。ビッグデータの活用により生み出される新たな付加価値が注目され、既に商業、マーケティングを始め、多分野で活用が進んでいる。

医療健康分野においても医療情報の集積、ゲノムデータの集積などは正にビッグデータであり、これらビッグデータの集積、解析によって得られる成果の重要性が強く認識され、活用の取り組みが始まっている。

一方、このビッグデータ活用の背景となっているスーパーコンピュータやDBMS（Data Base Management System:大容量データの高速処理システム）の急速な進化や、シークエンサーなどの遺伝子解析機器の著しい性能向上に伴い、医療健康分野のビッグデータの研究は急速に増えており、ビッグデータを利用した医学関係論文の数を見ても2012年ごろから急増している。¹⁾

日本においても、ビッグデータ活用のための基盤整備等に真摯に取り組み始めたところであるが、

その診療情報やゲノムデータなどの「ビッグデータ」活用の取り組みの現状や課題を整理してみた。

(1) ビッグデータ活用がもたらす社会変革

医療健康分野のビッグデータについては、公衆衛生、健康政策、医療評価、医療政策、医療変革（発症予測予防医療へのシフト等）、新医療技術創生（創薬を含む）など、その成果の活用範囲は広い。既にビッグデータの解析・分析・研究による成果によって、医療の効率化や改善が図られており、日本においてもこの数年で国を挙げた取り組みが本格的に始まっている。

医療健康分野のビッグデータに対する期待が特に大きいのは、日々産生されている膨大な診療データや、解析スピードが飛躍的に進歩し情報爆発とまで表現されるゲノムデータの解析成果のフィードバックが、医療健康の飛躍的な改善やイノベーションの推進に大きく貢献することが考えられるからである。またそのことは超高齢化という社会環境の中で高齢者の健康寿命をいかに伸ばし、医療福祉の社会経費をいかに適正化していくかという重要な課題に対しての対応でもある。またさらにその関連サービスやビジネスを含め、社会に大きなパラダイムシフトや経済効果をもたらすことも期待されている。²⁾

医療健康ビッグデータの活用によって得られることが想定できる主な成果を表1にまとめている。

1) 中山建夫「医療ビッグデータがもたらす社会変革」（日経BP社 21世紀医療フォーラム編 2014年）

2) 「ビッグデータが私たちの医療・健康を変える」21世紀政策研究所報告書（2014年9月）

想定されるビッグデータ活用の主な成果（表1）

- EBM（Evidence Based Medicine；根拠のあるデータに基づく医療）の進展
医療ガイドライン（標準療法）、個別化医療（患者の層別化）、発症前・予後の介入等の進展等
- EBH（Evidence Based Health；根拠のあるデータに基づく健康対応）の進展
疾患関連の危険因子の解明、生活習慣病などの総合対策、個別の保健指導・発症予防の進展等
- HTA（Health Technology Assessment；医療技術評価）の進展
医療技術・薬剤等の根拠を持った評価、経済効率の比較・評価、医療費適正化等の施策の進展等
- 難病等の病因解明
オーファン、がん等の難治疾患の病因や治療法の解明、難病患者等のフォロー・生活の質の進展等
- 新薬や新医療技術等の研究開発に対する活用
新規薬剤ターゲット、疾患バイオマーカー、新規医療技術等の発見や示唆、革新的治療の進展等
- 薬事対応（承認、市販後調査等）に対する活用
有効性、安全性、品質などの情報入手、副作用監視（PV）、承認データへの活用、PMSへの活用等
- 医療や介護などのパフォーマンス評価、患者動向等に対する活用
受診動向、医療機関評価、地域医療計画や医療介護ネットワークの評価、及び改善に対する施策等
- 医療健康介護ビジネス・サービスのためのエビデンス
医療機関・薬局・介護施設・製薬企業・健康産業等のビジネスやサービスの質向上、新規創生等

ビッグデータの情報基盤が整備されていく中で、個人の病気の履歴や検診での検査数値、遺伝的な体質や要素、個人の背景要素（年齢性別等）、生活情報など、健康や医療に関する様々なデータが紐付けされることが前提ではあるが、医療という概念も変わっていくことが考えられる。

現在の医療は発症してから医学的な処置を受ける「治療」に主流があるが、近い将来においてはビッグデータの解析の成果と個人の遺伝や生活情報により、それぞれの個人の発症のリスクに対処した対策が発症前に実施されるとともに、発症した後はオーダーメイドの最適な治療が実施されることになる。また治療後の転機予測に基づいたケアの実施がメニュー化され、高齢者にはリハビリや介護もオーダーメイド化する。健康対応、医療対応の垣根が低くなり、高齢者では介護対応を含めた一体化したサービスが生まれてくる。

この医療健康ビッグデータを活用した「医療」が実現した際には、健康寿命が飛躍的に伸び、費用対効果が優れた対応により医療費・介護費を含めたコストも低減できることが期待できる。また医療の標準化も進み、個人の病状（または予測される病気）に最も効果的で経済的な「医療」が、日本の国のどこにおいても受けられるようになる。

さらに、現在治療法がないような疾患に対しても、イノベティブな研究開発が加速し、新しい治療法やクオリティオブライフ（QOL；生活の質）の改善がみられるようになる。

日々の治療や健康対応に対しては、小型のセンサーデバイスなどがモニターをしてくれ、その情報もビッグデータに組み込まれていく中で、例えば薬剤を使った治療であれば、コンプライアンスの確認や副作用のモニターが自動的にでき、効果も早期に確認できることにより、タイムリーな治療対応ができるようになる。

このような「(新しい概念の) 医療」のパラダイムシフトをしっかりと捉えながら、医薬品産業の方向性を考えていく必要がある。

また、ビッグデータの活用について、医薬品産業への影響を考えると、後述の医薬品の副作用監視（PV；Pharmaco Vigilance）における副作用情報の収集といった活用例だけではなく、薬剤ターゲットの探索や個別化医療・先制医療を反映した効果の評価、販売や処方の詳細情報による販売流通管理など、医薬品の創薬研究から開発、承認取得、製造、販売・マーケティング、薬事管理、流通といったバリューチェーン全ての断面で革新をもたらしていくことが考えられる。

(2) 日本の診療情報のビッグデータ活用状況

ビッグデータ活用のキーワードはデータの構造化（データベース化；利用目的を明確にしてデータを格納する作業）とデータマイニング（規則性法則性を発見する作業）である。また、特に医療健康分野のビッグデータ活用においては、ヒトの個人情報との関連から、倫理面の課題整備がキーアクションとなる。

まずはデータが電子化され、一連のデータがデータベース化されていることが、ビッグデータ活用の必須の要件であるが、日本中の医療関連施設で日々膨大な情報が付加されている診療情報を考えても、データを収納するためのデータベースの構築やデータ活用にあたっての整備が必要である。

診療情報というビッグデータの活用では、いくつかのステップが必要である。第一段階はEMR（Electronic Medical Record）であり、医療関係者が患者の諸記録を電子的に保存・管理・利用出来る状態となること。そして第二段階は、この個々の医療機関での情報が地域や国レベルで統合して利用できるようになること（EHR；Electronic Health Record）。そして第三段階がPHR（Personal Health Record）で、個人が自らの健康や疾病に関する情報を、自己管理のもとに活用できる状態となること。最後に、統合された医療情報の元、患者個々の治療効果や副作用、予後などを統計的根拠に基づきながら推定し医療行為を決定、実行していける段階（EBM；Evidence-based Medicine）である。

主だった診療情報は医療機関診療情報（カルテ等）、保険者レセプト情報、調剤薬局調剤情報といったものであるが、日本の状況を大局的にみれば、ようやく第一段階の整備を進めつつ、第二段階に入ったところであろうか。

しかしDPC（Diagnosis Procedure Combination；診断群分類）データやレセプトデータのように電子化が進み、日本において活用できる診療データも増えつつある。レセプトの電子化は2011

年以降義務付けられ、年間約10億件が集積されている。また、DPCデータは全国の一般病床の半数を超える約50万床が対象となり、800万件を超える蓄積が進められている。また以下に記載する経緯で、NDB（ナショナルデータベース）も構築され、国のリードによって診療情報のデータベース化が進められている（表2）³⁾。

国が進める診療情報のデータベース化(表2)

2002年 DPC（Diagnosis Procedure Combination；診断群分類）導入

2008年～NDB（National Database；「レセプト情報、特定健診等」情報データベース）構築

2011年～レセプト電子化が全医療機関に義務付け

「レセプト情報、特定健診等」（NDB）の第三者提供を試行的に開始
（有識者会議で承認された学術研究）

2014年以降 NDB 民間利用のための模擬申出の審査

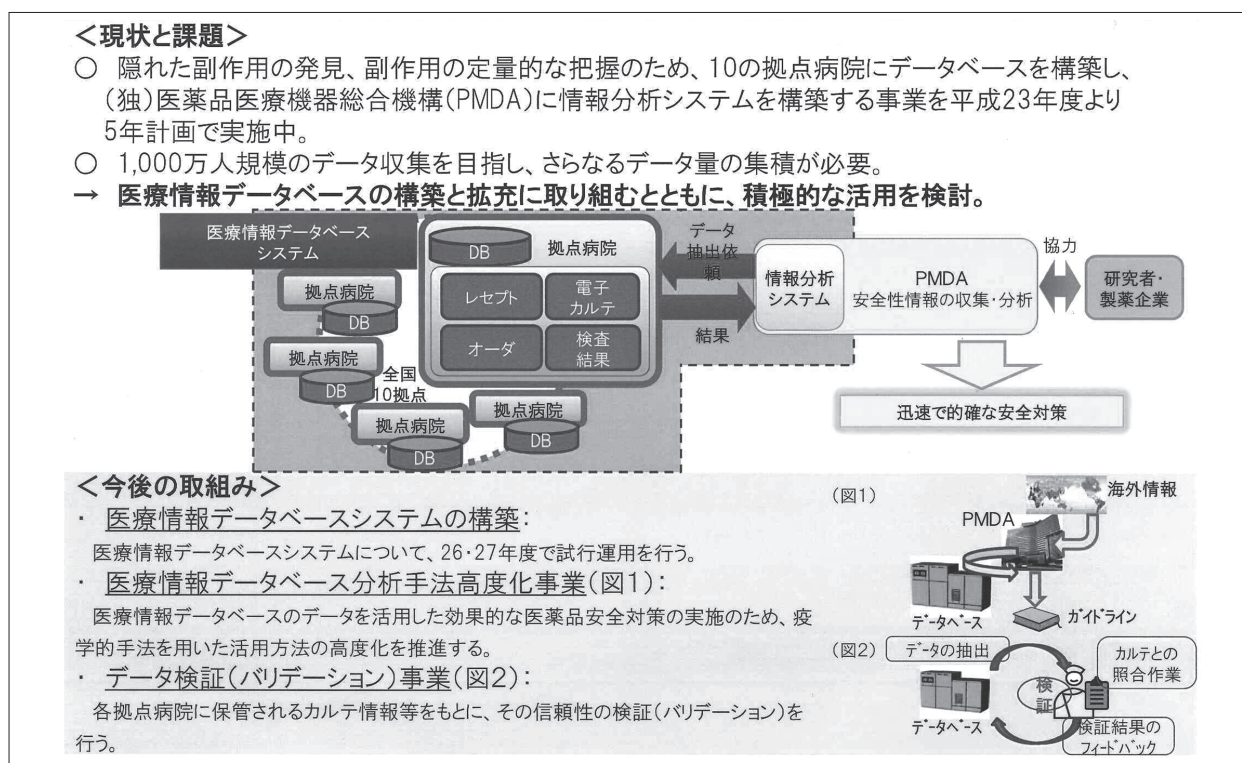
DPCの活用については民間のDPCデータに基づく病院比較サイトもあるが、EMR（Electric Medical Record；電子化された患者カルテ）の活用はまだ不十分である。

2009年政府のIT戦略本部が発表した「i-Japan戦略2015」に『日本版EHR（Electric Health Record）』構想が提起されている。ここでいう日本版EHRは「患者個人の生涯健康医療電子記録」というものであり、その個人カルテをデータベース化して、国、地域で活用しようという構想である。いくつかの地域において医療情報ネットワークで組み込まれている限られた情報連携は見られているが、診療情報のビッグデータ化とその活用については、患者の個人情報保護の問題を含め、まだ越えなくてはならない大きなハードルがあり、本格活用には少し時間が掛かりそうである。

平成26、27年度の厚労省予算で「電子カルテ等の分析を行う医療情報データベースの試行運用」の予算がついている。これはPMDAに情報分析システムを構築し、副作用の発見、定量的な把握

3) 「レセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）について」厚労省保健局資料（平成26年11.6）

医療情報データベースを活用した医薬品安全対策の推進（図1）



(平成27年度厚生労働省予算関連資料より抜粋)

を行うもので、将来的には1,000万人規模のデータ収集を目指している（図1）⁴⁾。

(3) 診療情報ビッグデータ整備の先進国の状況

欧米主要国の中で診療情報ビッグデータの整備が進んでいる代表的な国は、米国と英国、北欧（スウェーデン、デンマーク）などである。これらの国の取り組みには日本も学ぶべきところがある。その概要は以下のようなものである。

まず、米国であるが、民間保険会社がレセプトデータベースを構築し、費用対効果を高めようとしている。非常に多くのデータベースに分かれているが、トータルとしてはほぼ100%のカバーとなる。HIPAA（Health Insurance Portability and Accountability Act；医療保険の携行性と責任に関する法律）によって、個人情報保護に対する規制が明確なことから、民間企業により EMR を含めた多彩なデータベースの構築、リンクが進んでいる。レセプトに比べ EMR は若干普及が遅れている。

が、2009年に公布した HITECH 法（Health Information Technology for Economic and Clinical Health Act；電子カルテなど医療 IT の普及を促進するための法律）により、普及率が上がり、GP（General Practitioner；総合診療医、家庭医）では69%に達している。

医師やアカデミアも診療データを積極的にデータベース化してリアルデータ研究を行う意識が高いため、診療データベースを用いた研究論文の数は他国を圧倒している（年間1万件ともいわれる）。

また Sentinel Initiative プロジェクト（2008年～）により、医薬品や医療機器の安全性のモニタリングをするための統合された電子システムを目指した動きが始まっている。将来的には1億人規模の医療ビッグデータベースを構築して市販後の安全対策に資する予定であるが、パイロットプログラムとして Mini-Sentinel のデータネットワーク（分散データベース）を用いたサーベイが始まっている。

4) 「厚生労働省における医療 ICT 化の取り組みについて」厚生労働省資料（平成25年11.5）

英国は、国民保健サービス（NHS；National Health Service）のもと、IT化プログラムや医療データ化推進の制度や取組により、診療データの電子化率は世界トップクラスであり、EMR率はプライマリケアでは100%、セカンダリーケアでも約70%と高率である。代表的なデータベースは、GPの診療データのCPRD（Clinical Practice Research Datalink）、病院の診療データであるHTI（Hospital Treatment Insight）であるが、がんを始めとする疾患のレジストリー（登録患者の診療データ）などもリンクでき、患者の個人情報保護を行いながら、データの活用を促進する制度が機能している。

民間からのアクセスについても仕組みとプロセスが整備されており、政府所有データの公開を目指すOpen Dataイニシアティブなどの制度も進めている。CPRDをリソースとした研究論文だけで1,000を超えているという報告がある。¹⁾

スウェーデンは日本と同様、国の医療保険制度が充実しており、政府主導でデータベース基盤が整備されている。レセプトデータベースのカバー率は100%、EMRも100%近い。国民ID番号制度があり、EMR、レセプト、患者レジストリーなどの複数のデータベースが高い精度でリンクされている。デンマークでも様々な診療情報がほぼ100%電子化され、データベースが統合化されている。レセプトデータには100%民間もアクセスできる。これらの北欧の国は国主導で診療情報全般の統一データベース化を進めた理想形である。

また、欧州でもEMA（欧州医薬品庁）が副作用検知システム（ENCePP；薬剤疫学及びPVファーマコビジランス・センターの欧州ネットワーク）のプロジェクトを進めている。

(4) コホート研究等のビッグデータ活用

一方、健診や患者登録、コホート研究などのデータの分析から具体的な成果が得られつつある。コホート研究においては最近ではゲノムデータを含めた患者や健康人のデータも集積され、健康リス

クや疾患との要因分析が国の助成金などにより広く進められている。

コホート研究は疫学の研究手段の一つであり、特定のヒト集団（コホート）を数十年単位で長期間にわたって追跡調査し、疾病と環境や遺伝の要因間の関係を明らかにするものである。大きく疾患関連コホート研究と健常者コホート研究に大別できる。近年のゲノム研究の技術革新により、ゲノム情報を組み込んだゲノムコホート研究が主流となっている。

このゲノムコホート研究とバイオバンクの活用が疾患関連遺伝子（発症関連、予後関連、薬剤関連遺伝子など）の探求に大きく貢献している。

2011年8月に閣議決定された第4期科学技術基本計画で『革新的な予防法開発に向けたコホート研究の推進』が提唱され、2013年6月に閣議決定された『科学技術イノベーション総合戦略』でも「国際社会の先駆けとなる健康長寿社会の実現」が掲げられ、高品質のゲノムコホート研究やバイオリソースバンクの安定的運営が述べられている。

また日本学術会議は2013年にゲノムコホート研究体制分科会を設け、7月に「100万人ゲノムコホート研究の実施に向けて」と題した提言を行っている。

「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」の政府策定に基いて、既に我国の疾患バンク、ゲノムコホート研究、全国の大学、医療機関が密接に連携して、ゲノム情報を用いたオーダーメイド医療を実現するためのエビデンスを創出し、臨床応用に結び付ける取り組みが始まっている。

また、H27年2月から健康医療戦略推進会議の下に設置される『ゲノム医療実現推進協議会』においても、コホート研究、バイオバンクについての今後の取り組みについての検討がされることが決まっている。

コホート研究（バイオバンク支援・協力を含む）は現時点では最も大きな成果が期待されるビッグデータの研究分野である。現在、主だったものだけ

1) 中山建夫「医療ビッグデータがもたらす社会変革」日経BP社 21世紀医療フォーラム編（2014年）

でも約80のコホート研究、3つのビッグバイオバンク事業が日本で推進されている。個々のコホート研究においてその研究は蓄積され、その成果を使った種々の取り組みが始まろうとしている。

広域のコホート研究の代表的なものとしては、「大規模多目的コホート研究 (JPHC Study)」、「日本多施設共同コホート研究 (J-MICC Study)」、「子供の健康と環境に関する全国調査(エコチル調査)」 などがある。

JPHC Study は国立がん研究センターを中心に1990年から開始された健常者コホート研究であり、13万人の調査対象、6万人の血液検体を持ち、特に生活習慣とがん発症や循環器疾患罹患についてのエビデンス構築に寄与している。2011年からはJPHC-NEXTとして、バイオマーカーを取り入れて10万人対象の新たなコホートを開始している。

J-MICC Study は1988年に開始された大規模コホート研究 (JACC Study) を前身として、フォローアップデータにゲノム解析等を実施することによって病因の解明や病気の新規分子マーカーの発見などの成果を出している。現在約10万人を対象として追跡調査を継続している。

エコチル調査は胎児期から小児期にかけて、化学物質暴露が子供の健康に与える影響を解明するための長期大規模コホートであり、全国15地域の大学などが参加している。平成23年1月より10万組の親子のコホートを実施中で、13年間を追跡期間としている。近年増加している子供の喘息やアトピー、発達障害等の疾病に対する環境因子、遺伝子因子等の影響を検討する。

また、2013年より始まった東北 MMB (メディカルメガバンク) のコホート研究は健常者を対象に、3年間で住民8万人、3世代コホート (新生児、父母、祖父母) 7万人を目標にデータ集積を開始している。また、日本人遺伝子研究のベースとなる健常者ホールゲノム分析をバイオバンクジャパンと連携して1,000人実施している。

その他にも地域での種々の個別目的を持ったコホート研究が行われている。長期間の患者追跡を行っている久山町 Study (約1万人; 患者、健常者) や長浜コホート (1万人、多因子疾患患者、健常者) などが知られている。ゲノムコホートを取り入れて、疾患候補遺伝子の発見などの成果がみられている。

日本の3大バイオバンクの特徴 (表3)

バイオバンクジャパン (BBJ) 2003年～

主体) 東京医科学研究所・理化学研究所

世界最大級のバイオバンク (30万人規模、47疾患)

血清及び組織検体 約300万検体 2005年より一部検体の分譲を行っている

⇒ 約320個の疾患関連・薬剤関連の遺伝子を同定している

オーダーメイド医療実現プログラム推進

ナショナルセンター・バイオバンク・ネットワーク (NCBN) 2011年～

主体) がん研究センターなど6ナショナル研究センター (NC)

豊富な臨床情報の付随する10万人以上の患者検体バイオバンク

検体の民間への分譲等はなく、共同研究ベースでの提供

⇒ 大規模ゲノム解析連携基盤を構築

がんや小児先天性疾患、神経・筋難病の原因遺伝子等に対する共同研究基盤整備

各NCのバイオバンクネットワークを組んでいるが、統合したナショナルバイオ

バンクとして整備を進めている

東北メディカルメガバンク (東北 MMB) 2013年～

主体) 東北大学・岩手医科大学

大規模ゲノムコホート&複合バイオバンク

健常人バイオバンク (15万人規模 (予定))

⇒ 日本人標準ゲノムセット構築 (1,000人分の全ゲノム配列解読)

三世代コホート 遺伝継承性に基づく発症予測

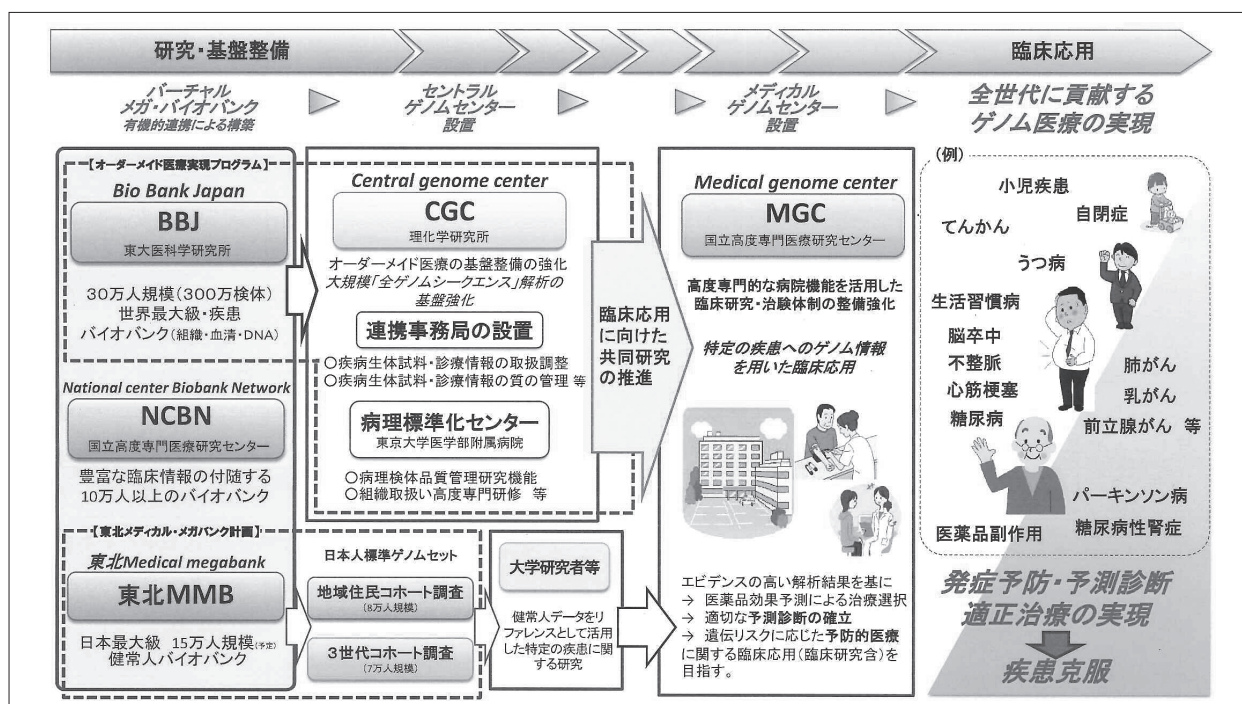
次世代医療実現を目指した個別化予防等の基盤形成を進める

これらの研究の下支えとなっているのが3大バイオバンク（表3）の活動であり、日本のオミックス研究（ゲノムを始めとした生体分子研究）の基盤的役割を果たしている。

これらのバイオバンクやコホート研究については連携が進みつつある。特に3大バイオバンクに

についてはバイオバンクジャパン（BBJ）に日本のセントラルゲノムセンターの機能を持たせ、ナショナルセンター・バイオバンク・ネットワーク（NCBN）や東北MMBの患者・健常者検体やゲノム情報を共有して、共同で研究を進める体制が作られつつある。（図2）

3大バイオバンクの連携とゲノム医療の実現（図2）



（平成27年度内閣府予算関連資料より抜粋）

創薬（疾患ターゲットの探索）という視点では、従来『疾患ゲノムコホート研究』やバイオバンクの疾患ゲノムの探索により、疾患関連遺伝子を同定することが行われてきたが、結果として発見されたターゲット遺伝子は多くの場合単一遺伝子疾患（一つの遺伝子の変異が発症原因となる疾患）の遺伝子であった。しかし、脳卒中、心筋梗塞、糖尿病、がんなど多くの疾患の発症には多因子の遺伝子や体質の要素が加わり、かつ生活習慣などの要素も含めて発症に至るので、疾患ターゲットを絞り込むことは困難であった。これからのゲノ

ムコホート研究においては大規模なコホートを対象に『遺伝子－環境相互作用解析』を行い、多因子疾患の疾患ターゲットも解明される可能性が高まっている。

また個別化医療（予防への進化）という視点でも、大規模な健常者集団を数十年にわたって追跡し、ゲノム情報を始めとした詳細な要素をデータ化することで、発症前、発症後、また発症しなかった健常者との要因比較を分析することにより、個別予防医療の実現が期待できる。^{5) 6) 7) 8)}

5) 「オーダーメイド医療の実現化プログラム」文科省シンポジウム資料（2014年3月）

6) 「日本のゲノムコホート研究とバイオバンクの倫理的課題」東大医科研シンポジウム資料（2013年3.28）

7) 「個別化医療・創薬のための大規模ゲノムコホート研究の最新動向」シードプランニング（2014年4.21）

8) 「個別化医療の実現を目指すコホート研究の新展開」シードプランニング（2014年6.6）

日本学術会議は100万人規模の健常人ゲノムコホート研究を提言⁹⁾しているが、一般にコホート研究の規模は1～10万人ほどのものが多く、コホート間で統一したフォームでデータを共有するなど、研究連携が生まれつつある。

平成23年4月にライフサイエンス分野のデータベースを統合する目的で、科学技術振興機構(JST)にバイオサイエンスデータベースセンター(NBDC)が設置されているが、統合データベース整備の第2段階(H26年度～)の目標として日本国内のゲノムコホート研究で蓄積されるデータを統合的に利用できる仕組みを作る必要があると提言されており、既に動きが始まっている。¹⁰⁾ ビッグデータ活用に非常に重要な取組みである。

コホート研究以外でも、アカデミアレベルでの臨床データベースが構築され、現場での活用が行われている。その代表的なものが、NCD(ナショナルクリニカルデータベース)という専門医制度と連動した臨床データベースである。

2000年に心臓血管外科領域でスタートし、2011年から一般外科全域に拡大された後、現在は内科等も合流し4,000を超える施設が参加している。既に300万件を超えるデータ数が蓄積されており、インタラクティブなデータベースを目指している。また、患者目線の医療評価を行うことで参加医師への意識改革・教育効果が成果として出ており、参加している医療機関で治療成績の改善がみられていると評価されている。現時点ではNCDには年間100万件の登録がされている。

また、少し先の話になるが、疾患別の患者登録(レジストリー)により、患者の臨床データが集積されてくる分野がある。まず、がんについては「がん登録推進法」が施行され、2016年1月以降の罹患者の情報から病院は届け出に法的義務が生じる。登録情報は国立がん研究センターに送られ、『全国がん登録データベース』が構築される。

難病についても2015年1月1日付で難病法が施行される。既に難病患者の臨床調査個人票が2001年に電子化され、2014年に難病患者データベースは構築されているが、法律で電子化のレジストリー提出が規定されることにより、難病患者のデータベースの整備が進むことが期待される。

これらのレジストリーのデータベースについては、解析された成果がフィードバックされて疾患治療アウトカムや個別化医療に有益であることはもちろんであるが、疾患に対するイノベティブな研究開発にもつながるものであり、登録データの匿名化を行い研究班以外の活用や国際連携も視野に入れることが望まれる。

(5) 特に進展が望まれる施策

最後に日本の医療健康分野のビッグデータを活用していく中で、現在課題として取り上げられている点を表4にまとめておく。¹¹⁾

日本で対応が遅れているEHRの本格活用のための事前のインフラ整備には国を挙げた取り組みが必須である。

カルテやレセプト、健診情報、疾患・検診レジストリー(登録患者の診療情報)など様々な医療健康情報が個人単位で紐付けできることが重要であることから、理想的には全国レベルの患者IDを創生して、医療健康データ統合システム、あるいはヘルスケアシステムの統合プラットフォームを構築することが望まれる。しかし既にカルテ等のIT化に際してたくさんのベンダーが医療機関単位でシステムを構築している現状では、ベンダー間の互換性のあるシステムやコンバーターを作り、そのネットワーク化を進めていくほうが現実的かもしれない。その上でネットワークのためのシソーラス(構造化、層別化された統制語彙集)の標準化や、記載フォームの標準化、またデータ解析の前提としてオリジナルデータを分析用デー

9) 「100万人ゲノムコホート研究の実施に向けて」日本学術会議提言(2013年7月)

10) 「ライフサイエンス分野の統合データベース整備の第2段階の在り方について」科学技術振興機構(平成24年7月)

11) 「ライフサイエンス・臨床医学分野におけるデータベースの統合的活用戦略」科学技術振興機構(平成25年3月)

タに移築する手間を簡単にする最適化技術、二次活用を視野に入れた匿名化システムの構築等々、インフラ起動に必要な整備を進めていくことが考えられる。

従来の個別のデータの整理という発想のIT化から、「ビッグデータとしての活用」による付加価値の創生という構想が新たに追加されることで、全体のインフラ整備の作業規模が著しく拡大することは想像に難くないが、特定の地域でモデルを構築してオールジャパンに拡大するなど、ステップを明確にした確実な取り組みを期待する。

またコホート研究やバイオバンクの活用についても各組織の連携や統合化が進められているが、研究データや資源の民間を含めた二次利用推進な

どはまだ不十分である。この領域でのデータサイエンスはイノベティブな医療、新薬発見に繋がるものであり、法整備を含めてオープンイノベーションが実践できる研究協力体制の推進を進めてもらいたい。

医療健康分野ビッグデータの研究の重要性はこれから益々高まっていくことが考えられる。データから生み出される付加価値の大きさは人類に福音をもたらすものである。近い将来の社会体制や国家財政を考慮しても、プライオリティは非常に高い。医療健康分野ビッグデータの公共財産としての重要性について国民の理解と合意を取りながら、オールジャパンでの基盤整備の取り組みを急ぐことが望まれる。

日本の医療健康分野ビッグデータ活用に際して進展が望まれる基盤整備（表4）

- ① 全国民への医療IDの付与（マイナンバーとのリンクも視野）
国民（患者）一人一人のオーダーメイドの健康・医療を目指すことを念頭に、医療IDの設置を目指すこと。国民の合意と適切な運用、明確な成果。
- ② 『日本版EHR』構想の推進
全国のカルテ等医療情報のIT化、地域医療ネットワークの統合化、データベースのセントラル化を目指す。
2次活用を視野に入れたヘルスケアデータの統合プラットフォームの構築、基本フォームの統一、匿名化システムの構築、他の診療情報（NDB等）との紐付けetc.の推進。
- ③ 次世代スーパーコンピューターの導入など、データ量の爆発的増加への対応
Peta（10の15乗）サイズを超えるデータ量への爆発的な増加が続く状況の中、スーパーコンピューター『京』を凌駕するコンピュータや高速データ処理システムの導入を急ぐ。
- ④ グローバルに整合性を持つ個人情報保護などの法整備
国際的にデータの活用（研究連携などを含む）ができる体制を構築すること
米国のHIPPA法やHITECH法のような『電子的に保持される健康情報のセキュリティーに関する国家基準を設け、電子化を加速する』といったスタンスが必要。
- ⑤ 疾患別レジストリー（登録患者の診療情報）のデータベースの構築拡大
がん、難病と同様に、生活習慣病など健康政策上重要な疾患のレジストリーを行い、ビッグデータ活用をさらに進める。
- ⑥ コホート研究の統合（日本国内のコホートコンソーシアム）
併せて米国NCI（国立がん研究所）コンソーシアム等海外コホート研究との連携
コホート研究やバイオバンクの機能、情報、データの統合化、セントラル化を進める。
- ⑦ 産官学共同研究の推進（コホート研究、ゲノム研究、バイオバンク試料の民間活用等）
ビッグデータの活用が創薬候補物質の特定や研究開発の大きな推進力となることを強く意識して、その研究現場と企業のコラボを強める。また、医療機関、バイオバンク等のARO（臨床研究機関）化を進め、オープンイノベーションを活性化する。
- ⑧ ヒューマンデータサイエンティスト等「医療健康ビッグデータ活用」を推進する人材の育成

アカデミア発医薬品を創出するために －医師主導治験の活用による薬事承認取得事例を踏まえ－

医薬産業政策研究所 主任研究員 渋谷勝一

近年、新薬候補となる創薬シーズの探索・発見に関しては、製薬企業自らの研究活動だけでは有望な創薬シーズを見い出すことが難しくなっており、そのため、製薬企業は外部に目を向け、主にアカデミアなどが有する創薬シーズ（「アカデミア発シーズ」）を積極的に獲得するオープン・イノベーション型の研究開発に方向転換している。

こうした動きを推進するため、国の施策のもとにアカデミア発シーズを企業に橋渡しする創薬支援の仕組みがすでにいくつか構築されている。その中でも特に、「創薬支援ネットワーク」に関しては、コーディネーターと呼ばれる製薬業界出身者の創薬エキスパートが創薬シーズの目利き役となり、アカデミアから寄せられる優れた研究成果について情報収集・分析し、実用化の見込みが高い創薬シーズを発掘していることもあり、製薬業界は大きな期待を寄せている。

しかしながら、アカデミア発シーズの場合、そもそも企業戦略に基づいて創薬化のステージを進めてきたものではないため、実際には製薬企業のニーズとマッチングしないことが多いことはよく知られている。

アカデミア発シーズに限らず、新薬創出に向けては、公知申請を除き、臨床研究・治験の実施による有効性・安全性の確認は、全ての創薬シーズを新薬につなげる上で原則不可欠である。製薬企業にとって、対象疾患となる市場規模の大小等の採算性の観点は非常に重要であり、その理由から積極的に開発を行わない創薬シーズは現に存在し

ている。このような状況ではアカデミア発シーズを企業サイドへ委ねるのではなく、アカデミア自らが臨床段階へ移行させる手段として、臨床研究あるいは医師主導治験が実施されている。ただし、医薬品の薬事承認を得るには、製薬企業から申請を出す必要があり、アカデミア発シーズの実用化にも、最終的には企業が申請用のデータを整備し、申請を行うことになる。その際、医師主導治験のデータは申請に直接活用できるが、臨床研究のデータは参考資料の位置づけである。

本稿では、医師主導治験のデータが実際に申請に活用され、薬事承認に至った事例の実態を確認することを試みた。

調査方法と確認結果

一般財団法人日本医薬情報センター（JAPIC）の「日本の新薬－新薬承認審査報告書 DB－」において、2003年7月1日～2014年12月31日までに登録されている新薬審査報告書594件のうち、同報告書の記載から国内で医師主導治験が実施され、臨床試験成績として評価されていると判断できたものとして9件抽出した。さらに、公益社団法人 日本医師会 治験促進センターのホームページで公開されている医師主導治験の治験推進研究事業の実績における「承認取得実績」の情報¹⁾も参考とし、上記9件以外に医師主導治験を実施し、薬事承認に至った2件の事例を確認した。これら計11件の医師主導治験の実施による薬事承認取得事例として表1に示した。

1) 参照 URL : <http://www.jmacct.med.or.jp/clinical-trial/results.html>

医師主導治験は2003年7月に制度化されて、すでに10年以上経過するが、現在までに医師主導治験を実施して薬事承認（製造販売承認あるいは製造販売承認事項の一部変更承認）を得たと確認できた11件の医薬品のうち、製造販売承認を取得し

ていたのは5件（タルク、メトレプレチン、フェノバルビタールナトリウム、沈降新型インフルエンザワクチン2件）である。残り6件は製造販売承認事項の一部変更承認、すなわち、効能追加あるいは用法・用量の追加というものである。

表1 医師主導治験を実施し、薬事承認を取得した医薬品の事例

一般名	承認年月	承認又は追加承認された効能・効果等	備考（有効性及び安全性に関する評価資料に用いられた医師主導治験の対象等）
リツキシマブ	平成26年8月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）	・小児期発症の難治性ネフローゼ症候群（頻回再発型又はステロイド依存性）の患者を対象とした医師主導治験を実施
タルク	平成25年9月 （製造販売承認）	悪性胸水の再貯留抑制	・悪性胸水が貯留した患者を対象とした医師主導治験を実施 ・滅菌調整タルク製剤
タラポルフィンナトリウム	平成25年9月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	原発性悪性脳腫瘍（腫瘍摘出手術を施行する場合に限る）	・悪性脳腫瘍患者を対象とした本剤を用いた光線力学的療法の有効性及び安全性を検討する医師主導治験を実施
タクロリムス水和物	平成25年6月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	多発性筋炎・皮膚筋炎に合併する間質性肺炎	・多発性筋炎・皮膚筋炎に合併する間質性肺炎患者を対象とした医師主導治験を実施
メトレプレチン ²⁾ （遺伝子組換え）	平成25年3月 （製造販売承認）	脂肪萎縮症	・脂肪萎縮症患者を対象とした医師主導治験を実施
フェノバルビタールナトリウム	平成20年10月 （製造販売承認）	新生児けいれん、てんかん重積状態	・新生児けいれん患児を対象とした医師主導治験を実施 ・静注用フェノバルビタール製剤
ベプリジル塩酸塩水和物	平成20年10月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	他の抗不整脈薬が使用できないか、又は無効の場合の持続性心房細動	・持続性心房細動患者を対象とした医師主導治験を実施
アルガトロバン水和物	平成20年7月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	ヘパリン起因性血小板減少症（HIT）Ⅱ型における血栓症の発症抑制	・HIT又は血栓塞栓症を併発したHIT患者を対象とした医師主導治験を実施
沈降新型インフルエンザワクチン	平成19年10月 （製造販売承認）	新型インフルエンザ（H5N1）の予防	・健康成人を対象とした医師主導治験を実施（申請者：財団法人阪大微生物病研究会）
沈降新型インフルエンザワクチン	平成19年10月 （製造販売承認）	新型インフルエンザ（H5N1）の予防	・健康成人を対象とした医師主導治験を実施（申請者：社団法人北里研究所）
フェンタニルクエン酸塩	平成19年8月 （製造販売承認事項の一部変更承認）	小児に対する用法・用量の追加承認	・新生児（低出生体重児を含む）から6歳以下（7歳未満）の小児を対象とした医師主導治験を実施 ・医師主導治験成績を活用した承認申請としては国内初となる承認を取得

2) 文部科学省の「橋渡し研究支援推進プログラム」による支援を受けたもの。本医薬品以外は厚生労働科学研究費補助金による公益社団法人日本医師会の治験推進研究事業の研究課題として支援を受けたもの。

医師主導治験実施促進のための環境整備

医師主導治験は企業治験同様に GCP (Good Clinical Practice) に従って実施しなければならない。また加えて、医師主導治験では自ら治験を実施する者となる治験責任医師が、治験実施計画書等の作成、治験計画届の提出、治験の実施、モニタリングや監査の管理、治験結果を取りまとめた総括報告書の作成など、実施医療機関と協力しながら治験に係わる全ての業務の実施並びに統括を行わなければならない、医師側の負担が膨大である。

医師側の一連の業務を支援する体制として、これまでに「橋渡し研究支援推進プログラム」・「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」における橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点などが国の事業として整備されてきた。

さらに、国は2015年度からは医療法に基づいて臨床研究中核病院を位置づけ、現状の臨床研究中核病院および早期・探索臨床試験拠点の整備を進め、順次、この医療法上の臨床研究中核病院に移行するとしている³⁾。

医療法上の臨床研究中核病院では、国際水準の質の高い臨床研究や治験を自ら実施するとともに、他施設で実施する臨床研究及び治験の計画立案や実施について支援する ARO (Academic Research Organization) 機能を有することとされ、現在その具体的要件についての検討が進められている。

また、厚生労働省では、2014年6月17日に公表された「先駆けパッケージ戦略」の中で、医療法上の臨床研究中核病院は、『多施設共同臨床研究、国際共同臨床研究、医師主導治験、First in Human 試験などの経験も豊富であり、治験の実施件数が他の医療機関より多いことが想定される』と記載

しており、医師主導治験の主要な実施拠点の1つと見なしている。

「創業支援ネットワーク」においても、出口戦略としてアカデミア発シーズの企業への導出以外に、医師主導治験への橋渡しに関する支援が掲げられている。

支援の最終ゴールが新薬の創出であることを念頭に置けば、薬事承認を得るための医師主導治験の円滑な実施につながるよう、「革新的医療技術創出拠点」⁴⁾等との連携も必要である。これに関しては、法律に基づいて2015年4月に日本医療研究開発機構が設置され、同機構の元で「創業支援ネットワーク」や「革新的医療技術創出拠点」などの医療分野の研究開発プロジェクト管理が実行されることから、関係機関同士での連携・協力がより一層強固で緊密なものとなることが期待されている。

これらの状況から、現状では医師主導治験実施による薬事承認取得事例は多くはないものの、今後、整備された拠点の支援が有効活用できると見込まれるため、これまで以上に医師主導治験の実施が推進され、それに伴って薬事承認に活用し得る臨床データが増えていくと予想される。

医師主導治験の成果の新薬創出への活用に向けて

アカデミア発シーズの最終的な受け皿となる製薬企業に対して、「薬事承認取得のために活用できる臨床データが提供され、企業が開発に着手しやすい環境を整備する」という、新薬創出の支援を図る取組が国(官)主導でなされている。

これまで医師主導治験のほとんどが、国内既承認医薬品に対する適応症の拡大、新剤型・新投与経路の開発に対する治験、あるいは国内未承認薬の開発に対する治験であったが、今後は「革新的

3) 現在、臨床研究中核病院および早期・探索臨床試験拠点に選定されている拠点がそのまま、医療法上の臨床中核病院として承認される訳ではない。また、医療法上の臨床研究中核病院が誕生することに伴い、これまでの臨床研究中核病院の名称は臨床研究品質確保体制整備病院に変更される予定である。

4) 国では、文部科学省の「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」と厚生労働省の「臨床研究中核病院整備事業」等(臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、日本主導型グローバル臨床研究拠点、の整備事業)、との2省の予算事業を一体化させ、「革新的医療技術創出拠点」として基礎研究から実用化まで一貫した支援を行い、日本発の革新的な医薬品・医療機器等を更に創出する体制を構築・整備を進めている。医療法上の臨床研究中核病院も、「革新的医療技術創出拠点」の中に含まれる。

医療技術創出拠点」をはじめとした整備拠点を活用して、世界に先駆けて日本発の革新的医薬品を産み出していくための医師主導治験も相当数増えていくものと思われる。このように医師主導治験の実施が活性化されることで、その成果となる臨床データが新薬の薬事承認に供されていく機会が増えていくのは、日本の医療にとって好ましい状況である。

製薬企業は新薬の創出などを通じて世界の医療に貢献する使命を有しており、その使命を達成できるよう、各社それぞれに企業戦略を検討・策定し、社会に新薬を提供してきた。企業にとっては、医師主導治験の実施により、自らの開発リスクが軽減される効果が期待されるものの、今後増えてくるであろう医師主導治験の成果が、円滑に企業に橋渡しされるかどうかには、まだいくつかの課題があるのではないだろうか。

例えば、治験薬として医師主導治験で使用する際に求められる要件と、医薬品として市場に供給した場合に求められる要件とは必ずしも一致しないなど、「供給」の問題が考えられる。新薬を市場に供給するに当たり、継続的に安定供給していく必要があることから、製造法を確立させねばならないが、アカデミア発シーズの場合には、大量生産するための技術が同時に開発されているとは限らない。

また、医師主導治験の対象となるのは、主には製薬企業が積極的に開発を行わないが、「社会的に必要とされる新薬」となり得る創薬シーズが多いとすれば、それに応じた取組みが求められる。

すなわち、「社会的に必要とされる新薬」を世に誕生させるためには、これまでの産官学の連携を土台とした新薬創出に向けた仕組み作りに加えて、製薬企業の努力のみではなく、現状における規制・制度の在り方まで踏み込んだ議論を重ね、必要に応じて社会全体のシステムとして改良を加えていくことが求められる時代がまさに目前に到来しているように思える。

まとめ

2014年7月に閣議決定された「健康・医療戦略」において、諸施策を総合的かつ計画的に推進するための1つに、「施策の実施機関の連携強化に向けた取組の推進」が掲げられている。

そこでは、『健康・医療戦略に基づき、医療分野の研究開発を着実に実施するに当たっては、大学などの研究機関で実施される基礎研究の成果を円滑に実用化へつなげることが重要である。このため、大学、研究開発法人、その他の研究機関、医療機関、企業等の間の連携・協力関係の構築や、知的財産の確保と活用、企業ニーズとのマッチングの促進等に取り組む。』と記載されており、アカデミア発シーズと企業ニーズとのマッチングの促進も課題の1つとして挙げられている。アカデミアに眠っている有望な創薬シーズを、国の様々な取り組みによって磨きをかけ、企業単独では生み出せなかった新薬として創出することを実現させることは国としての重要な戦略である。製薬企業は新薬によって恩恵を受ける患者のニーズも鑑み、担うべき使命や社会的責任のもとに新薬の開発を進めているが、アカデミア側でも早期にパートナーとなるべき企業を見つけ、自らの創薬シーズの実用化に向けたコミュニケーション、コラボレーション活動を重視するなどの取組みが望まれる。

さらに、アカデミア発シーズの橋渡しを真に実のあるものとするために、今一度、必要とされる新薬の創出というものを健康・長寿を目指す社会全体の問題として考えていく時期に差し掛かっているように思われる。

そのため、社会全体としての取組みとして何をなすべきなのかについてのコンセンサスを得る場が必要であり、そこで現状の規制や制度等について、吟味の上、適宜、見直しや改善の要否が論じられるまでに検討が深まっていくことを期待したい。

承認審査に係る改善要望の分析 —新薬の臨床開発と審査期間調査（2013年実績）から—

医薬産業政策研究所 主任研究員 加賀山貢平
東京大学大学院薬学系研究科 准教授 小野 俊介

医薬産業政策研究所と東京大学大学院薬学系研究科は共同で、新医薬品の臨床開発及び承認審査期間の情報を継続的に収集、分析している。2013年の調査結果については既に報告しており、承認審査制度に対する申請企業の意見や要望については、自由記載項目として得た回答を基本的に原文のまま掲載している¹⁾。自由記載の回答は申請企業の生の声であり貴重な意見が多く含まれていることから、今回、申請企業の要望をよりわかりやすくする目的で分析を試みた。

調査は、2014年1～2月にかけて実施し、回答会社62社のうち、59社（95%）から自由記載項目への回答を得た。また、総記載数は296件であり、うち改善を求める要望は226件（76%）であった²⁾。

分析にあたっては、自由記載項目への回答全文から頻出したキーワードの抽出を行った。さらに抽出したキーワードを分類し、上位概念でのラベル付けを行い構造化した。

承認審査期間に関する近年の傾向

日本の新医薬品の審査期間（中央値）は、2006年以降大幅に短縮され、2013年には、通常審査品目で11.0ヶ月、優先審査品目で8.5ヶ月となり、欧米の審査期間に匹敵するレベルとなっている¹⁾。

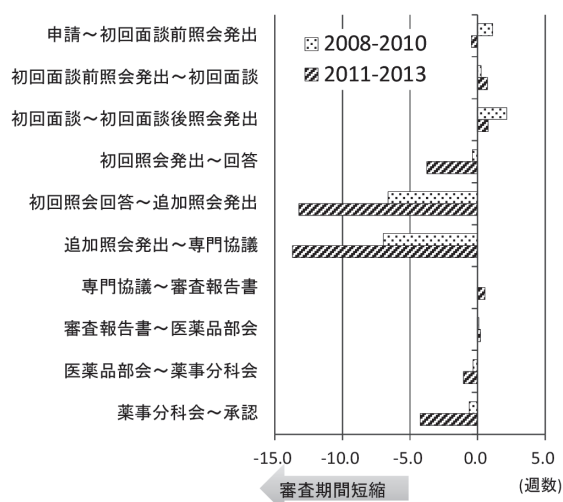
また、医薬品医療機器総合機構（PMDA）は第3期中期計画において、更なる審査の予見性向上と質の向上を図るため、必要な体制強化を行うとともに、審査期間目標値（通常品目12ヶ月、優先品目9ヶ月）を従来の中央値から段階的に上げ、平成30年度に80パーセンタイル値で実現するとしている。

図1では、2005年以降の新医薬品の審査プロセスごとの審査期間について、2005～2007年の審査期間（各年中央値の平均）と比較した近年の審査期間の変化を示した。2005～2007年と2011～2013年を比較すると「初回照会発出～回答」で3.7週間、「初回照会回答～追加照会発出」で13.2週間および「追加照会発出～専門協議」で13.7週間審査期間が短縮されており、初回照会事項の発出から専門協議開催までのプロセスで30.6週間と大きく短縮されている。審査期間の短縮は、申請企業にとっても望ましいことである一方、近年の急速な審査期間短縮による申請企業側の審査対応への影響が懸念されたため、2014年1月時点の申請企業から見た審査体制や手続きに対する要望を各審査プロセスに注目して分析した。

1) 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」リサーチペーパー・シリーズ No.63（2014年11月）

2) 自由記載回答を医薬産業政策研究所にて改めて内容別に整理分類した。

図1 審査プロセスごとの近年の審査期間の変化
(2005～2007年の審査期間との比較)

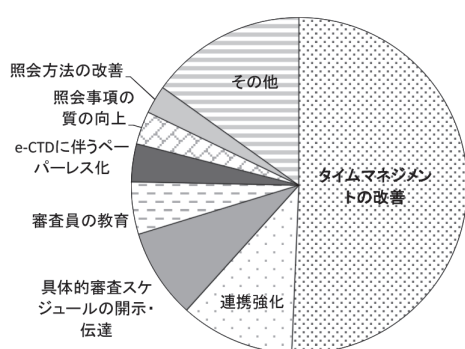


注：審査期間は各年中央値の平均を用いて算出した
出所：脚注1）をもとに作成

申請企業から見た要望の概要

要望を内容別に分類整理し、集計したのが図2である。タイムマネジメントの改善に関する要望が全要望の約半数をしめており、次いでPMDA内の部門間連携強化、具体的審査スケジュールの開示・伝達、審査員の教育に関する要望が多い結果となった。

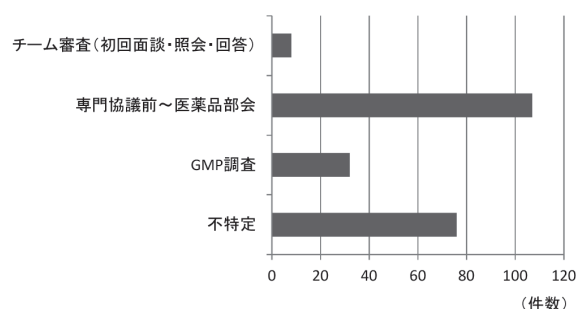
図2 要望の内容別分類



各要望が審査プロセス・調査等のどの段階に該当するかを個々の記載から推測しまとめた結果、要望に関連する審査プロセスが推測できたもののうち最も要望数が多かったのは、専門協議前～医薬品部会までのプロセスとなっていた(図3)。すなわち、審査期間の短縮効果が小さいプロセスに

おいて申請企業側が改善への期待感を抱いていることとなる。審査期間が大きく短縮された専門協議までの期間ではなく、専門協議後のプロセスで要望が多かった理由としては、2013年4月以降医薬品リスク管理計画(RMP：Risk Management Plan)の策定が承認条件となるなど医薬品の安全性管理への関心の高まりや、審査期間短縮との関連は明確ではないが、専門協議までの審査が以降のプロセスまで継続されている品目が多い可能性などが考えられる。

図3 審査プロセスごとの要望数

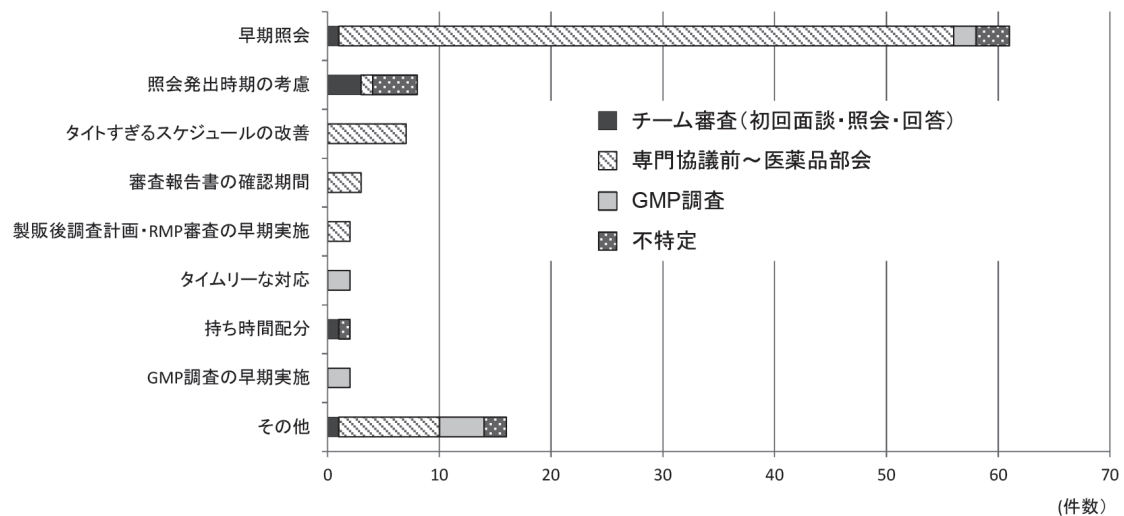


タイムマネジメントの改善に関する要望

最も多かったタイムマネジメントに関する要望内容について紹介する(図4)。要望の審査プロセスについては、要望の概要結果と同様、専門協議前から医薬品部会までのプロセスに関するものが多くを占めていた。専門協議から医薬品部会までのプロセスでは、専門協議後照会事項の対応だけでなく、添付文書(案)やRMP(案)・製造販売後調査等計画書(案)に関する照会対応があり、申請企業において多くの部門で横断的に検討する内容が多く含まれることから、短時間での対応が難しいという事情がある。また、CTD改訂作業、医薬品部会資料準備に加え、GMP調査が重なることもあり、申請企業側のスケジュールが非常にタイトになっている。このような状況を改善したい、もしくは改善してほしいとの思いが強く、タイムマネジメント関連の記述が多かったと考えられる。

具体的な要望として、審査期間を延長することなく申請企業におけるタイトな対応状況を改善するため、PMDAから照会事項をより早く発出して

図4 タイムマネジメントの改善に関する要望内容



ほしいという要望が最も多かった。以下に代表意見を示す。

- 可能な限り早期から添付文書に関する照会時のやり取りをさせて欲しい
- 審査の早い時期に RMP についても審査して頂きたい
- 専門協議後は純粋に専門協議からの照会事項対応のみにしていただきたい
- RMP、製造販売後調査計画及び販売用資材等に関しては、事前に面談等である程度課題を確認し、進めてはどうか

承認取得・薬価収載後すぐに発売するために、発売時に必要な資材や添付文書は承認取得前から準備を行っておく必要があり、承認直前での変更は発売の延期につながることも想定される。承認後・薬価収載後は患者さんにできるだけ早く届けるためにも、関連する照会事項の早期発出が望まれる。

また、タイムマネジメントに関する他の要望として、照会事項発出時期を考慮してほしい、審査報告書の確認期間を増やして欲しいという要望があった。照会事項発出時期については、連休前の発出・連休後の回答や業務時間外の発出に対して改善を求めるものが多かった。

連携強化に関する要望

タイムマネジメントの改善に関する要望に次いで多かったのが、PMDA内の部門間連携強化に関する要望である。より連携を強化してほしい部門は、以下の通りであった。

表1 連携を強化してほしい PMDA 部門

部門名	件数
審査部と品質管理部	8
審査部と安全部	4
審査部と信頼性保証部	2
品質管理部内	2
その他	3

最も記載件数の多かったのは、審査部と品質管理部との連携であり、CTDの品質パートにおける照会事項と GMP 調査の照会事項で齟齬があった事例がコメントとして寄せられていた。承認書の記載事項と GMP 調査は相互に影響するため、審査部と品質管理部がさらに連携した審査が行われることを期待したい。添付文書（案）に関する照会事項においては、煩雑な照会事項とならないよう審査部と安全部がより早い段階から連携し、かつ、早期の照会事項発出を希望する意見が多かった。また、PMDA内における審査スケジュールの連携強化についても要望があった。

その他の要望について

その他の要望として多かったのは以下の3点である。

- ① 具体的審査スケジュールの開示・伝達
- ② 審査員の教育
- ③ e-CTDに伴うペーパーレス化

「具体的審査スケジュールの開示」については、ある程度の審査スケジュールは開示されているものの、スケジュールに関する連絡が不十分で申請企業側でタイトな期間での照会事項対応やGMP調査対応を行っている例もある。PMDAから連絡してほしいスケジュール関連の内容として以下のものが提示されていた。

- 照会事項回答書提出後、追加照会事項までのスケジュール
- 目標とする医薬品部会の年月
- 変更が予想される場合の随時・事前の連絡
- 原薬等登録原簿登録会社への照会事項発出日・回答書受理日等の情報を申請者に提供

PMDAは昨年10月から新医薬品承認審査時事前評価相談を開始している³⁾。信頼性調査及びGMP調査等の審査スケジュール等について承認申請前に申請者とPMDAと面談を行い、各イベント前後の必要な対応について相互確認する制度ができたことで、本要望が大きく改善されることに期待したい。

「審査員の教育」に関する要望では、近年のPMDA審査員の急激な増加とも関連すると思われるが、経験が少ない審査員について教育を求める要望があった。効率的な審査推進のためにも円滑なコミュニケーションと審査員のレベルの底上げ及び経験のある審査員のフォロー体制を期待したい。

「e-CTDに伴うペーパーレス化」については、e-CTD申請の場合でも審査チーム用のCTD印刷物、回答書印刷物及び医薬品部会等の資料は従前の紙申請のときと変わりなく必要とされており、より効率化されることが望まれる。

おわりに

本稿では、新医薬品の臨床開発及び承認審査期間調査（2013年承認品目）の自由記載項目に記載されていた各種要望について、よりわかりやすくすべく分析を行った結果をまとめた。審査期間短縮による申請企業側への影響は明らかではないが、承認審査プロセスの専門協議前から医薬品部会までの段階では申請企業側の審査対応の負荷に関する意見が多く、現在の審査体制にはまだ改善の余地があると思われた。

他方、本調査では、PMDAの承認審査に関するパフォーマンス評価も実施しており、2013年調査ではこれまでの最高点となっていることも特記したい¹⁾。また、自由記載件数296件中70件には、改善要望ではなく、現在のPMDAの審査体制を高く評価しているものが多く含まれていた。以下に例を示す。

- 重大な内容については、初期段階から照会されていた
- 審査スケジュールの開示については適切であった
- 照会事項の発出等についても事前に連絡をいただき、企業側もスケジュールが立てやすかった
- 照会事項に関する疑義について丁寧に説明して頂いた
- 審査体制等は全般的に改善されている

今回要望事項として前述した内容は、適宜適切な対応がとられていると思われるが、PMDAには、質の向上を図るためのさらなる体制強化に期待したい。

3) 新医薬品承認審査予定事前面談実施要綱について（2014年10月6日 薬機発第1006001号）

低分子医薬品とバイオ医薬品の研究開発状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 古賀祐司

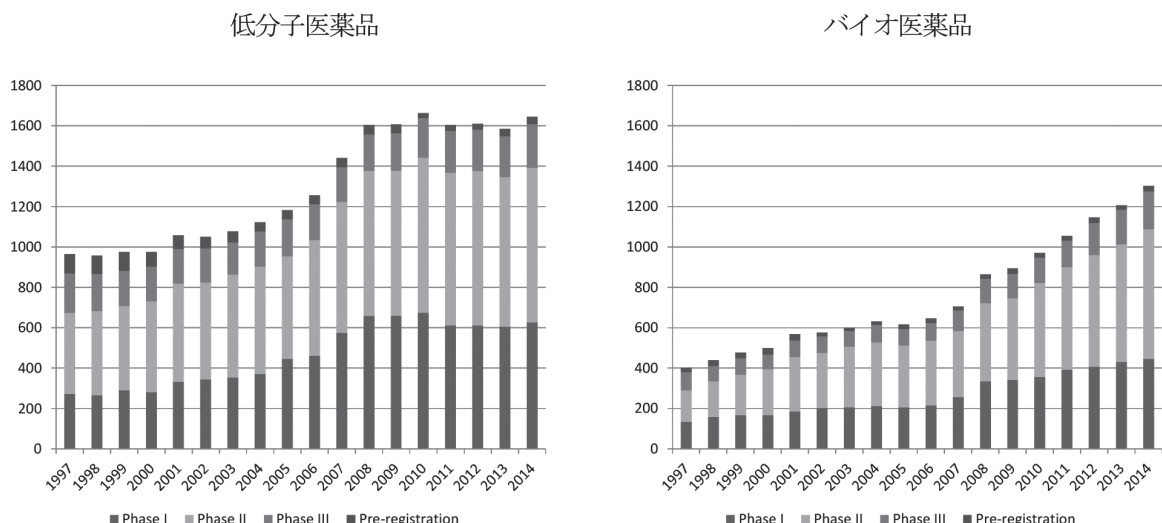
近年、世界の売上上位品目において、バイオ医薬品が大きな地位を占めるようになってきたことから、世間ではバイオ医薬品の注目度が高い。これに対し、生活習慣病を始めとする日々の治療においては経口による服薬が中心となっている患者は多く、低分子医薬品が多くの人の役にたち、これまでも、そしてこれからも重要な役割を果たすことには変わりがない。

今回のニュースでは、新薬上市を目指す新有効成分の低分子医薬品およびバイオ医薬品の研究開発状況を報告する。

開発品数の推移

開発化合物データベースをもとに、新有効成分医薬品の開発状況を調査した¹⁾。グローバルに通用する新薬の開発を目指していると思われる化合物を調査するため、日本、欧州、北米のどこかの国で研究開発活動が実施されている化合物を対象とした。また、新有効成分を調査対象とするため、低分子医薬品については口腔内崩壊 (OD) 錠のような新剤形の薬剤や合剤は集計から除いた²⁾。バイオ医薬品については抗体、組み換えタンパク、組み換えペプチド、ワクチンなどを含むが、バイオシミラーは集計から除いた³⁾。

図1 開発品数



出所：Pharmaprojects、Evaluatepharma をもとに作成

- 1) Pharmaprojects のトレンドデータを Evaluatepharma により補い、集計した。(2015年1月時点)
- 2) NCE (New Chemical Entity) を調査した。そのため主として低分子医薬品により構成されるが、中分子医薬品等も多少含む。
- 3) NBE (New Biological Entity) を調査した。バイオ医薬品の集計においては組み換えインスリン等のように化学名が同一であっても、真に同一物か否かの確認が困難であるため、バイオシミラーと確認できない限りは以下の集計に含めた。そのため、開発品数を過大に見積もって集計している可能性がある。

ステージごとの臨床開発品数を各年5月時点の状況により経年的に示したのが図1である⁴⁾。低分子医薬品の開発品総数は1997年から2014年にかけて1.7倍に増加していた。2000年から2008年までは増加していたが、それ以降は大きな変化は見られない。1997年から2014年にかけて各年の総数は増えたものの、Phase IIIの数にあまり大きな変化はない。そのため、この間総数に占める割合はPhaseIIIは20%から13%と減少したのに対し、PhaseIは28%から38%、PhaseIIは41%から46%と増加していた。

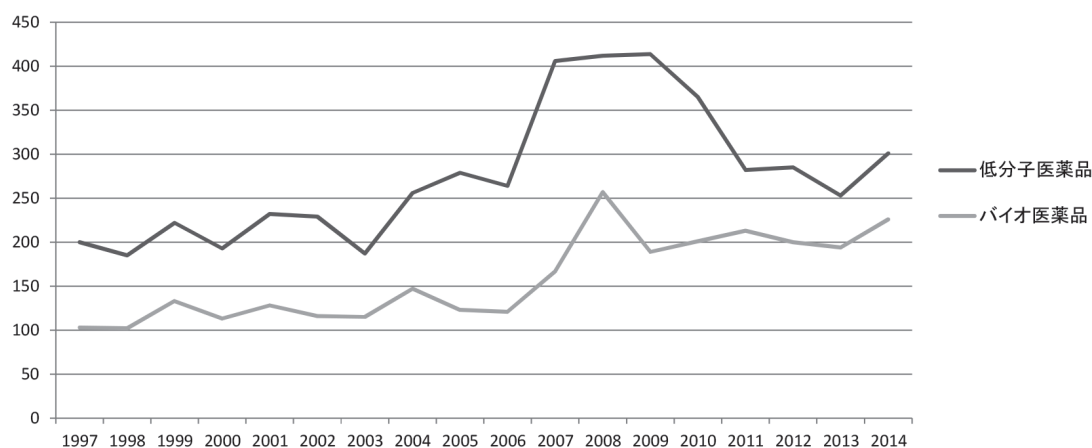
一方、バイオ医薬品の開発総数は1997年から2014年にかけて増え続け、3.2倍にまで増加していた。特に2006年以降の伸びが大きく、1997年から2006年は年率平均5%の増加であったのに対し、2006年から2014年は年率平均9%で増加していた。1997年から2014年にかけてPhaseIIIの数はおよそ2倍に増加したものの、総数も増えたため、PhaseIIIの占める割合としては、22%から14%と減少した。これに対し、PhaseIは34%で変わらず、PhaseIIは39%から49%と増加していた。

新規開発品数の推移

図1に示した各年の開発品数は、前年に開発されていた数に、新規開発化合物数と、承認あるいは開発中止、中断によりリストから外れた数を集計したものと解釈できる。世の中から薬に求められる有効性、安全性の高まりや市場環境により創薬研究環境は厳しく、開発品を創出するのが困難になりつつあると言われている。そこで、その実態を調べるべく、図1に含まれる各年の新規開発品数を調査した。結果を図2に示す⁵⁾。

新規臨床開発入りが確認された低分子医薬品の数は1997年から2007年の10年間でおよそ2倍に増えていた⁶⁾。しかし最近では2009年のピーク時と比べると3割程減少していた。このことは、創薬研究の標的分子が枯渇しつつあるため、企業が低分子医薬品創出研究に加え、バイオ医薬品創出研究にも積極的に参入しているため等と解釈することができよう。実際、バイオ医薬品は1997年から2014年にかけて2.2倍に増えており、特に低分子医薬品は減少傾向である最近5年でも、バイオ医薬品は新規開発品数を維持していた。

図2 新規開発品数



出所：図1に同じ

- 4) 一般に開発ステージは国、適応症ごとに異なるが、本集計においては最も進んでいるステージを示した。
- 5) データが公開資料に基づいており公開時期は開発元の方針に依存しているため、当該化合物が開発されていることが最初に確認できた年で集計している。PhaseIIに入った年を元に集計しているわけではない。確認できたステージの内訳は低分子医薬品（PhaseI：73%，PhaseII：24%，PhaseIII以降：3%）、バイオ医薬品（PhaseI：64%，PhaseII：30%，PhaseIII以降：6%）
- 6) 臨床試験（治験）に関する情報が日米欧の臨床試験登録サイト（JAPIC, Clinical.trial.gov, EudraCT等）に登録され、インターネットで公開されるようになったことを背景として、従来より早期のパイプラインを公開するようになった企業がある。そのため、2000年代半ば過ぎにデータベースへ登録された化合物が一時的に増えた可能性はある。

新規開発品の薬効分類

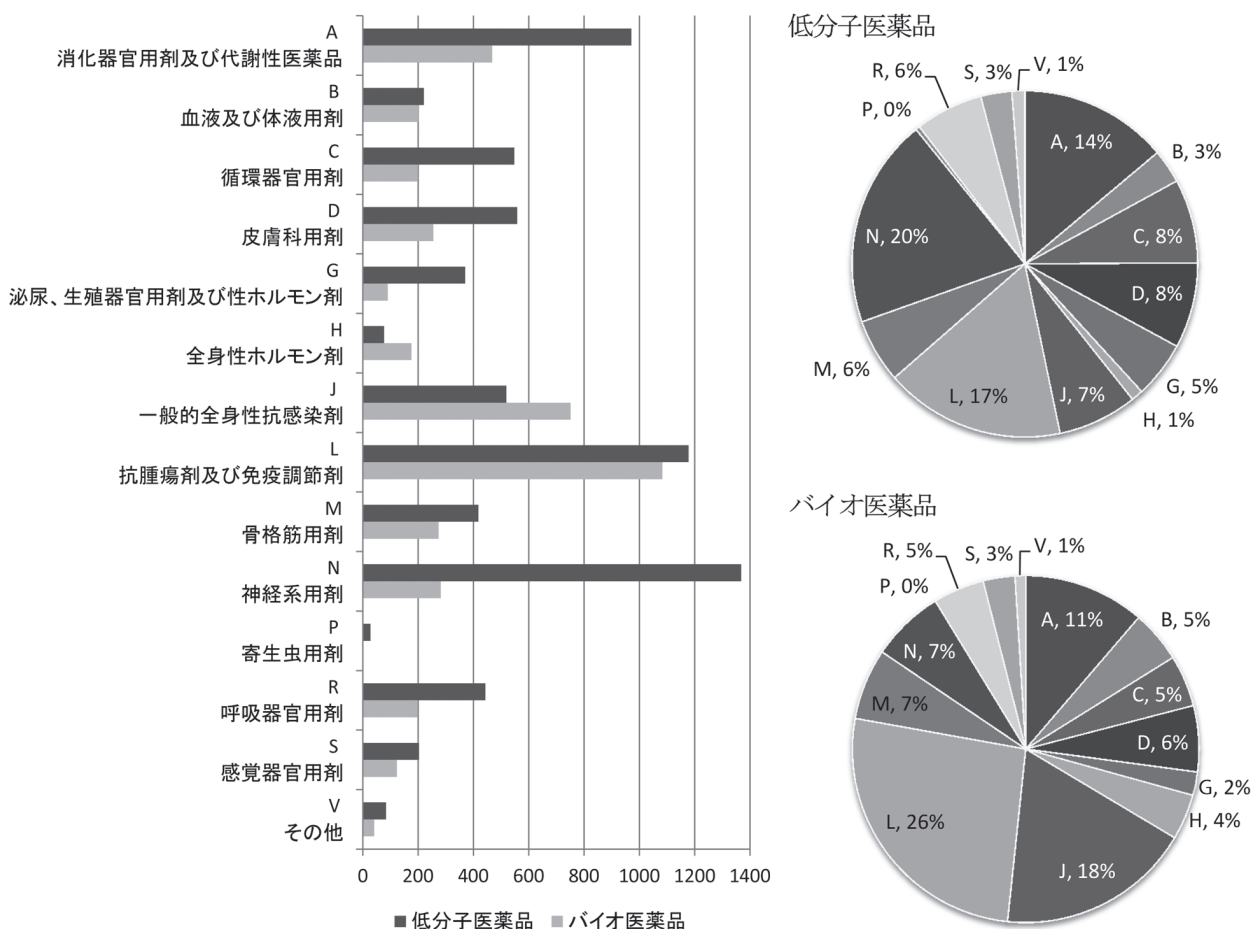
図2に示した低分子医薬品とバイオ医薬品の新規開発品の薬効についてATC分類を用いて調査した⁷⁾。

図3に示すように、総数としてはL（抗腫瘍剤及び免疫調節剤）、N（神経系用剤）、A（消化器官用剤及び代謝性医薬品）に分類される薬効を示す開発品が多かった。個別の薬効ごとに見ると、低分子医薬品がバイオ医薬品よりも多かったのはA（消化器官用剤及び代謝性医薬品）、C（循環器官用剤）、D（皮膚科用剤）、G（泌尿、生殖器官用剤及び性ホルモン）、M（骨格筋用剤）、N（神経系用剤）、R（呼吸器官用剤）、S（感覚器官用剤）であった。特に、N（神経系用剤）では低分子医薬品がバイオ医薬品の4.9倍であった。一方、バイ

オ医薬品が低分子医薬品よりも多かったのはJ（一般的全身性抗感染剤）であった。また、B（血液及び体液用剤）、L（抗腫瘍剤及び免疫調節剤）では低分子医薬品がバイオ医薬品と同程度であった。

開発品に占める薬効分類ごとの割合としては、低分子医薬品はN（神経系用剤、20%）が最も多く、次いでL（抗腫瘍剤及び免疫調節剤、17%）、A（消化器官用剤及び代謝性医薬品、14%）の順であった。一方、バイオ医薬品はL（抗腫瘍剤及び免疫調節剤、26%）が最も多く、次いでJ（一般的全身性抗感染剤、18%）、A（消化器官用剤及び代謝性医薬品、11%）の順であった。このように低分子医薬品とバイオ医薬品では対象としている薬効領域に差が認められた。

図3 薬効分類



出所：図1に同じ

7) Pharmaprojects の Therapeutic Class をもとに集計した。1つの品目に複数の薬効が付与されている場合もある。

開発企業国籍

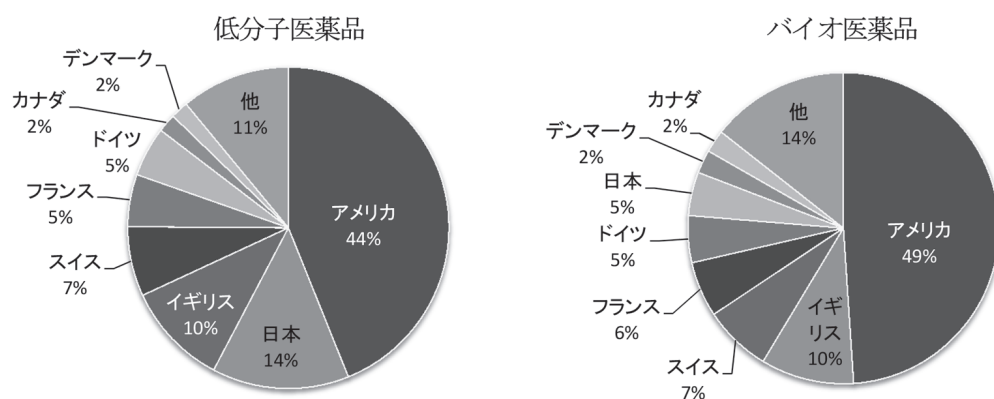
政策研ニュース No.42で報告したように、2013年世界売上上位100品目を企業国籍の面から見ると日本は世界第3位の医薬品創薬国である⁸⁾。そこで図2に示した新規開発品の企業国籍を調査した⁹⁾。図4に示すように、低分子医薬品では日本はアメリカに次いで2番目で14%を占め、イギリス、スイス、フランス、ドイツと欧州の国がそれに続いていた。アメリカ、日本、イギリス、スイスで全体の3/4を占めるという構図は、世界売上上位品目の創出企業国籍とほぼ同様であった。これに対し、バイオ医薬品では日本はアメリカ、イギリス、スイス、フランス、ドイツに次ぐ世界6位であり、全体に占める割合は5%に過ぎず、日本

の存在感は薄い。

おわりに

世界に比べて日本が遅れていると言われているバイオ医薬品の研究開発に今後国、企業が積極的に乗り出すのは一つの方向性として重要であろう。一方、日本が強みを持つと言われる低分子医薬品については、バイオ医薬品に置き換えられるような医薬品、神経系疾患などアンメットニーズ¹⁰⁾の高い領域での医薬品等の開発の期待がある。新規開発品数は一時に比べると減少しているものの、低分子医薬品の研究開発も今後も重要である。

図4 開発企業国籍



出所：図1に同じ

8) 医薬産業政策研究所、「国・企業国籍からみた医薬品の創出と権利帰属」政策研ニュース No.42 (2014年7月)

9) PharmaprojectsのOriginatorをもとに2015年1月時点での企業国籍で集計した。そのため、M & Aが起こっている場合には創出時の企業国籍は集計時点とは異なっている可能性がある。なお、8)の政策研ニュース No.42では創出時の企業国籍で集計している。

10) ヒューマンサイエンス振興財団「平成22年度国内基盤技術調査報告書－2020年の医療ニーズの展望－」(2011年3月)

アンメット・メディカルニーズの高い 難治性神経疾患治療薬の開発動向

医薬産業政策研究所 主任研究員 金子 聡

製薬産業は、医薬品の社会的ニーズに応えるため、革新的医薬品の研究開発を精力的に推進し、人々の健康と福祉に大きく貢献してきた。過去20年間に関節リウマチ、がん、慢性肝炎、脳梗塞など様々な疾患において革新的な医薬品が開発されてきた。

しかし、世界的にまだ多くの疾患において医薬品による治療が行える状況にはなっておらず、アンメット・メディカルニーズが存在する。中でも、現在有効な治療手段がほとんどなく、また病状が過酷な難治性神経疾患においては、新薬に対する期待が大きい¹⁾。

そこで本稿では、アンメット・メディカルニーズの高い難治性神経疾患治療薬の開発動向を調査した。

対象疾患

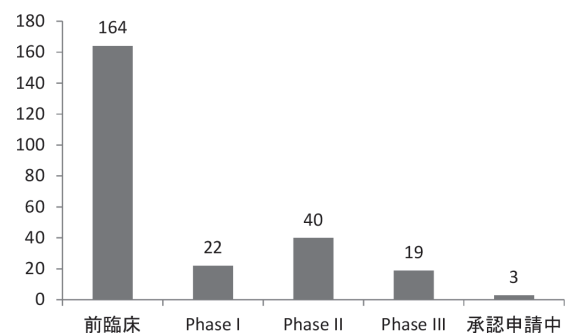
ヒューマンサイエンス振興財団「神経疾患に関する医療ニーズ調査」¹⁾において、「治療が行えているとはいえない」、「有効な治療薬がない」という回答の割合がいずれも40%以上のアンメット・メディカルニーズが高い神経疾患12疾患（進行性筋ジストロフィー、筋強直性ジストロフィー、遠位型ミオパチー、球脊髄性筋萎縮症²⁾、筋萎縮性側索硬化症、封入体筋炎、前頭側頭葉変性症、脊髄小脳変性症、多系統萎縮症、ミトコンドリア病、ハンチントン病、プリオン病）を対象疾患とした。

これら12疾患について、データベースPharmaprojectsを用いて、全世界で、対象疾患の開発ステージが前臨床から承認申請中の段階にある開発品目を抽出した。

開発品目の概要

図1に、全12疾患の開発品目数を示す。248品目が開発品目として確認された。しかし、前臨床段階が164品目と66%を占め、フェーズI以降の開発品目は84品目のみであり、全12疾患の開発品目数としては十分な数とは言えない³⁾。

図1 開発品目数



出所：Pharmaprojects をもとに作成（2015年1月現在）

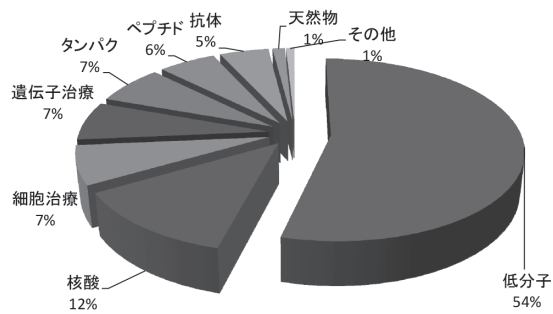
開発品目の技術分類をみると（図2）、核酸、細胞治療、遺伝子治療など、従来の低分子、抗体、タンパクに加えて、新たな創薬技術の応用が多いことが特徴的である。従来の創薬技術では、創薬が困難であった難治性疾患に対して、様々なアプローチが検討されていることがわかる。筋ジスト

1) ヒューマンサイエンス振興財団「神経疾患に関する医療ニーズ調査」（2013）

2) 球脊髄性筋萎縮症は、データベース上で区別されていないため、脊髄性筋萎縮症を含む

3) 比較対象の参考として、II型糖尿病のフェーズI以降から申請中にある開発品目数は166品目である。

図2 開発品の技術分類



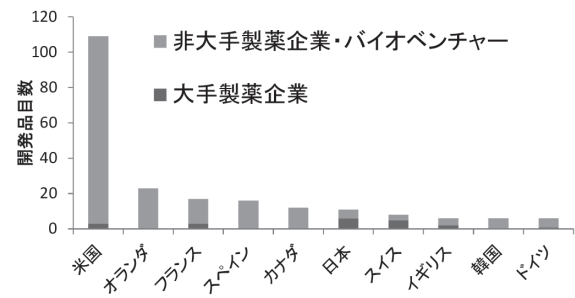
出所：図1と同じ

ロフィーに対するアンチセンス核酸によるエクソスキッピングのように、疾患の原因遺伝子に対する根本治療薬の開発が進みつつある。

研究開発企業の概要

図3に研究開発企業⁴⁾別にみた開発品目数を示

図3 開発企業の分類



出所：Pharmaprojects、EvaluatePharmaをもとに作成

す。研究開発企業の国籍は米国が最も多く、オランダ、フランス、スペイン、カナダが続いた。また、売上高10億ドル未満⁵⁾の非大手製薬企業・バイオベンチャーの品目が圧倒的に多く、全体の91%を占めた。

この理由として、多数を占める初期ステージの品目についてはバイオベンチャーによる研究開発

表1 代表的な研究開発企業

研究開発企業	疾患領域およびコア技術等	主な開発品目	2013年売上 (M\$)
Prosensa (オランダ)	希少疾患 アンチセンス核酸	・ drisapersen (申請中)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ PRO-053 (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ PRO-043 (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ PRO-044 (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	9
PTC Therapeutics (米国)	遺伝性疾患、がん、感染症 転写後制御プロセスを標的とした低分子	・ ataluren (PIII)：ベッカー型筋ジストロフィー（デュシェンヌ型で承認済み） ・ RG-7800 (PII)：脊髄性筋萎縮症	35
Sarepta Therapeutics (米国)	希少疾患、感染症 アンチセンス核酸	・ eteplirsen (PIII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ SRP-4053 (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	14
Marathon Pharmaceuticals (米国)	希少疾患 低分子	・ MP-112 (PIII)：ハンチントン病 ・ MP-104 (PIII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	非公開
Isis Pharmaceuticals (米国)	希少疾患、心血管系、代謝性疾患、がん アンチセンス核酸	・ nusinersen (PIII)：脊髄性筋萎縮症 ・ ISIS-DMPKRx (PII)：1型筋強直性ジストロフィー	147
Novartis (スイス)	筋骨格系疾患が重点領域の一つ	・ bimagrumab (PIII)：封入体筋炎 ・ BVS-857 (PII)：球脊髄性筋萎縮症	58,831
Edison Pharmaceuticals (米国)	ミトコンドリア病	・ EPI-743 (PIII)：リー脳症 ・ EPI-589 (PI)：ミトコンドリア病	非公開
Accelaron Pharma (米国)	がん、希少疾患 TGFβ関連タンパクの制御	・ ramatercept (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ ACE-083 (PII)：顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー	15
Cytokinetics (米国)	筋疾患 低分子	・ CK 2017357 (PII)：筋萎縮性側索硬化症 ・ CK-2127107 (PI)：脊髄性筋萎縮症	31
Pfizer (米国)	希少疾患専門の研究部門を持つ	・ PF-2545920 (PII)：ハンチントン病 ・ PF-06252616 (PII)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	51,452
Corestem (韓国)	神経疾患 細胞治療	・ HYNR-CS (PII)：筋萎縮性側索硬化症 ・ HYNR-CS-Allo (PI)：筋萎縮性側索硬化症	非公開
BioBlast Pharma (イスラエル)	希少、超希少疾患	・ trehalose (PII)：眼球咽頭型筋ジストロフィー ・ BBm-1 (前臨床)：脊髄性筋萎縮症	非公開
Pharnext (フランス)	神経疾患、難治性希少疾患 ドラッグリポジショニング	・ PXT-864 (PII)：筋萎縮性側索硬化症 ・ 品目名不明 (前臨床)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	非公開
Affiris (オーストリア)	神経変性疾患、慢性疾患 ペプチドワクチン	・ PD-01 (PI)：多系統萎縮症 ・ PD-03 (PI)：多系統萎縮症	非公開
Summit (英国)	遺伝性筋疾患、感染症	・ SMT-C1100 (PI)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ・ utrophin modulators (前臨床)：デュシェンヌ型筋ジストロフィー	3

4) Pharmaprojects のオリジネーターを研究開発企業とした。

5) 2013年売上高10億ドル以上の企業を大手製薬企業、10億ドル未満の企業及び非公開会社で財務データが入手できない企業を非大手製薬企業・バイオベンチャーと定義した。

が多いこと、また、患者数が少ない疾患領域のため、規模の小さい企業が主体となっていると考えられる。大手企業にとっては、市場規模が小さいことが、研究開発を進める上でのハードルになっていると予想される。

表1にこれら難治性神経疾患に対して複数の開発品目（うち一つ以上はフェーズⅠ以上）を持つ代表的な研究開発企業を示す。Novartis、Pfizer 以外はすべて、コア技術により希少疾患や難治性神経疾患等の創薬を目指す非大手製薬企業・バイオベンチャーである。

表2に国内の企業および研究開発機関が関与する開発品目を示す。国内においても、非大手製薬企業・バイオベンチャーによる開発品目が多い。さらに、企業とアカデミアの連携による開発品目もみられる。Orphan Disease Treatment Institute は、第一三共と政府系ファンドの産業革新機構が設立したベンチャーであり、産学官連携による創

薬の枠組みとして注目される。

おわりに

アンメット・メディカルニーズの高い難治性神経疾患の開発動向をみてきたが、依然として開発品目数は少なく、研究開発のアクティビティは十分とは考えられない。特に大手製薬企業の関与は低い。日米欧のオーファンドラッグ制度により、希少疾患の医薬品開発が大きく前進したものの、難治性神経疾患のような患者数が極めて少ない疾患については、より一層の対策が必要と考えられる。

オミックス技術や診断技術などの進歩により、これまで原因不明であった難病の疾患理解が進みつつあり、今後、疾患の原因に対する創薬アプローチの可能性が広がることが期待される。バイオロジーの進歩を革新的医薬品につなげるために、新たな枠組み作りが課題と考えられる。

表2 国内企業および研究開発機関が関与する開発品目

品目	開発ステージ	研究開発機関	導入企業	適応疾患 ⁶⁾	薬理作用	技術分類
edaravone	申請中	田辺三菱製薬		筋萎縮性側索硬化症	ラジカスカルベンジャー	低分子
E-0302	Phase III	エーザイ		筋萎縮性側索硬化症	ビタミン B12誘導体	低分子
KPS-0373	Phase III	塩野義製薬	キッセイ薬品	脊髄小脳変性症	甲状腺刺激ホルモン放出ホルモン	ペプチド
EPI-743	Phase III	Edison Pharmaceuticals (米国)	大日本住友製薬	リー脳症	抗酸化作用	低分子
MN-166	Phase II	杏林製薬	MediciNova	筋萎縮性側索硬化症	ホスホジエステラーゼ阻害、マクロファージ遊走阻止因子阻害等	低分子
hepatocyte growth factor	Phase I	クリングルファーマ (大阪大学)		筋萎縮性側索硬化症	肝実質細胞増殖因子 (HGF) 組換えタンパク	タンパク
WN-1316	Phase I	ニュージェン・ファーマ (東海大学)		筋萎縮性側索硬化症	nuclear factor (erythroid derived 2)-like 2 活性化剤	低分子
TAS-205	Phase I	大鵬薬品工業		デュシェンヌ型筋ジストロフィー	造血管型プロスタグランジン D シンターゼ阻害剤	低分子
NS-065	Phase I	日本新薬/国立精神・神経医療研究センター		デュシェンヌ型筋ジストロフィー	ジストロフィン遺伝子エクソンススキッピング	アンチセンス核酸
CK-2127107	Phase I	Cytokinetics (米国)	アステラス製薬	脊髄性筋萎縮症	トロポニン活性化剤	低分子
neurodegenerative disease therapy	前臨床	第一三共/カリフォルニア大学		前頭側頭葉変性症 プリオン病	不明	不明
ENA (ethylene-bridged nucleic acid)	前臨床	Orphan Disease Treatment Institute (第一三共)/産業革新機構/神戸学院大学/兵庫医科大学/神戸大学		デュシェンヌ型筋ジストロフィー	ジストロフィン遺伝子エクソンススキッピング	アンチセンス核酸
CNS gene therapy, Geonext	前臨床	Geonext/東京大学/自治医科大学		筋萎縮性側索硬化症	ADAR 2 発現 AAV ベクター	遺伝子治療
NPC-14	前臨床	不明	ノーベルファーマ	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	不明	低分子

出所：Pharmaprojects、明日の新薬、各社 HP をもとに作成

6) 適応疾患は本調査対象疾患のみ記載

新薬の再審査期間中の全例調査条件解除状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 藤川 誠

医療ニーズが高いにも関わらず承認審査において新薬の有効性や安全性に関する情報が限られている場合、新薬への患者アクセスなどの観点を踏まえ、承認時に製造販売後臨床試験の実施や新薬を使用できる医療機関や医師の制限などの承認条件¹⁾が、製薬企業に課せられることがある。特に国内治験症例が少ない/ない場合、重篤な副作用等の発現が懸念される新薬などの場合、一定症例数に係るデータが蓄積されるまで製造販売後に全ての使用患者を対象とした全例調査実施が承認条件(以下、全例調査条件)として付与される²⁾。

全例調査が行われる目的は、新薬の安全性及び有効性に関するデータ等を早期に収集し、承認内容の再確認や新薬の適正使用を推進することにあるが、当該新薬の製造販売後に収集したデータを再審査申請の添付資料として提出し、当該承認条件の解除の妥当性が規制当局により判断されている。

一方、再審査期間中に、全例調査が終了し安全性等が解析・評価が可能な場合には全例調査の必要性が見直され、全例調査条件が解除²⁾されることがある。本稿においては2001年～2014年までに承認された新薬の再審査期間中の全例調査条件の解除状況について調査した。

調査方法

2001年1月～2014年12月までに薬事食品衛生審議会医薬品部会(以下、医薬品部会)において審議・報告された新薬(新有効成分医薬品や効能追加など)の全例調査条件の付与状況を審査報告書より確認し、ATC分類を特定した。当該新薬の全例調査条件の解除³⁾については、2014年12月まで医薬品部会の議題或いは議事録、医薬品医療機器総合機構ホームページ、製薬企業プレスリリース等により調査した。

再審査期間中の全例調査条件解除の概況

図1は、承認年別の新薬への全例調査条件の付与の件数(上段)、当該新薬の再審査期間中における全例調査条件の解除件数(下段)を示す。

2001～2014年承認された新薬の全例調査条件は合計179件(内、希少疾患は合計112件)あり、2014年12月までに32件の全例調査条件が解除され、そのうち希少疾病に関する解除は11件であった。全例調査における調査期間の多くは3年間前後のものが多くことが報告されており⁴⁾、2011年以降の新薬は、承認後に十分な時間が経過していないこともあるが⁵⁾、全例調査条件が解除された事例は1件であった。

1) 「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」第79条(許可等の条件)より

2) 平成21年9月7日付け事務連絡「医療用医薬品の全例調査方式による使用成績調査及び市販直後調査に関するQ & Aについて」より、なお、全例調査の承認条件解除については、Q & A 7「再審査申請を待たずに、一定の解析・評価が可能であるものについては、承認条件を解除したい場合は、厚生労働省に承認条件の解除に関する要望書を提出することができる、要望を受けて、調査内容に関する総合機構での評価及び協議を経て、薬事・食品衛生審議会了承のうえ、厚生労働省において解除の可否が決定される」とされる

3) 本稿では、医薬品部会に報告され了承された時点を全例調査条件の解除として集計している。

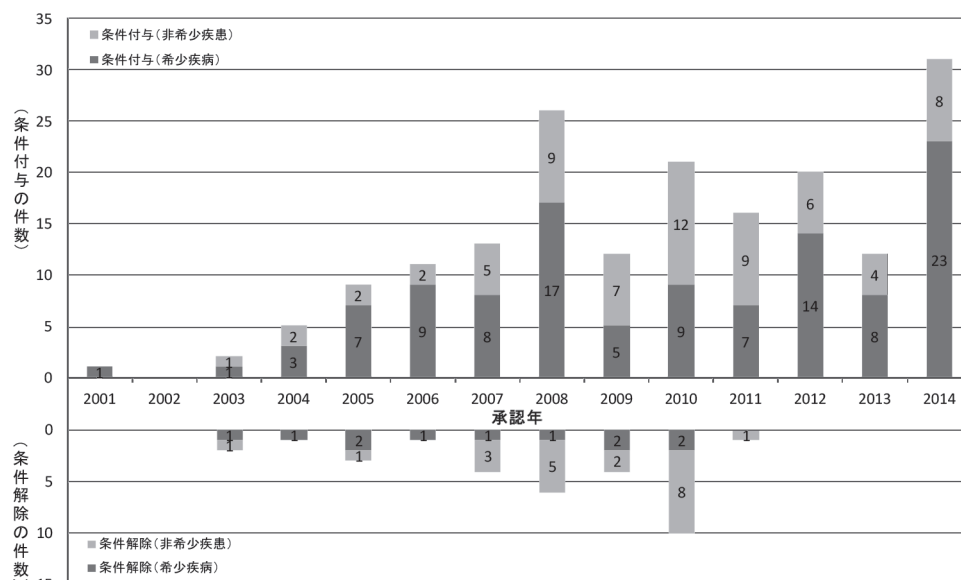
4) 「医薬品製造販売後の全例調査の実施状況及び意義に関する調査研究(アンケート調査に基づく考察)」、レギュラトリーサイエンス学会誌、4(3)、199～206(2014)

5) なお、今回の調査にて全例調査条件が解除された新薬については、承認～解除までの期間は平均3.0年(非希少疾患)、平均4.4年(希少疾患)であった。

次に図2より薬効分類別（ATC分類）の解除状況をみると、L領域（抗悪性腫瘍剤と免疫調節剤）、J領域（一般的全身性抗感染剤）、S領域（感覚器用

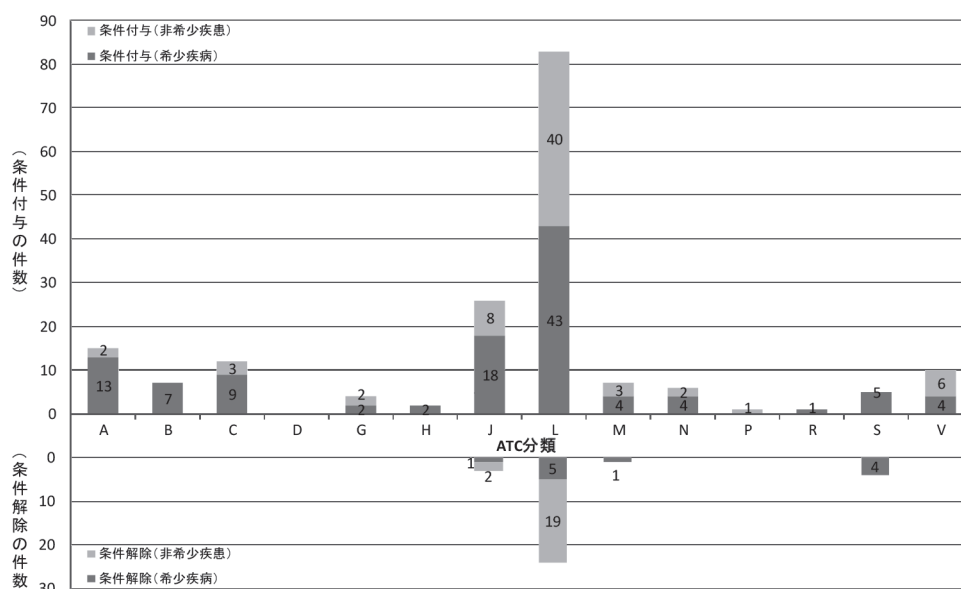
剤）において解除が行われていた。L領域が解除件数の7割(24/32件)を占めており、希少疾患に関する新薬の全例調査条件の解除の件数は少ない。

図1 2001～2014年までの新薬承認時の全例調査条件の付与及び再審査期間中の解除状況（承認年別）



出所：厚生労働省 薬事食品衛生審議会医薬品部会の議事録、PMDA ホームページ、製薬企業プレスリリース等より作成。

図2 2001～2014年までの新薬承認時の全例調査条件の付与及び再審査期間中の解除状況（薬効分類別）



出所：図1と同じ。

注：ATC分類は以下の通り。

- A（消化器官用剤及び代謝性医薬品）、B（血液及び体液用剤）、C（循環器官用剤）、
- D（皮膚科用剤）、G（泌尿、生殖器官用剤及び性ホルモン）、H（全身性ホルモン剤）、
- J（一般的全身性抗感染剤）、L（抗腫瘍剤及び免疫調節剤）、M（骨格筋用剤）、
- N（神経系用剤）、P（寄生虫用剤）、R（呼吸器官用剤）、S（感覚器官用剤）、V（その他）

主要基礎・臨床医学論文掲載数の国際比較

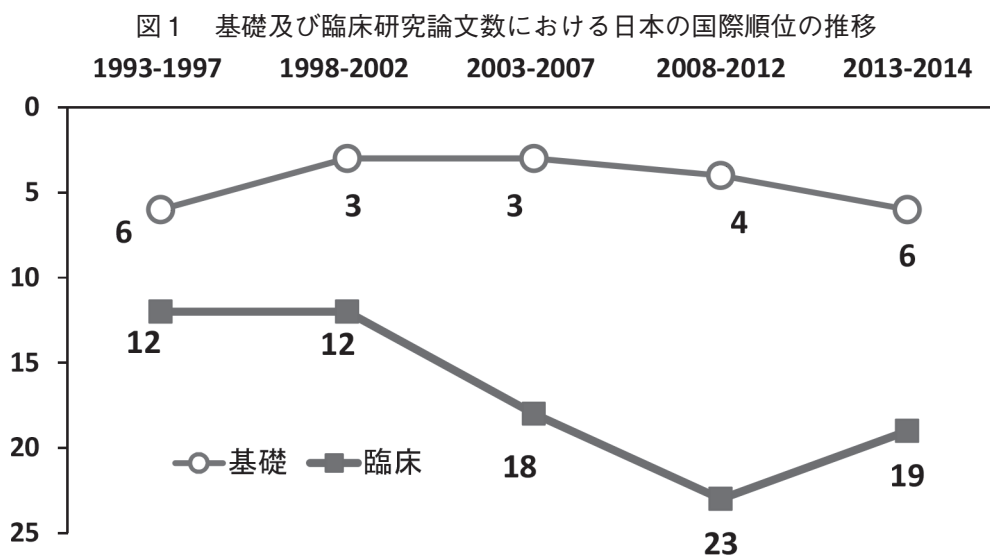
医薬産業政策研究所 主任研究員 金子 聡

インパクトファクターの高い基礎研究雑誌（Nature Medicine, Cell, J Exp Med）と臨床研究雑誌（New Engl J Med, Lancet, JAMA）の2013年から2014年の2年間に掲載された国別原著論文数を集計した（図1）。

2008年から2012年までの5年間の結果¹⁾と比較すると、基礎論文数については、中国が5ランク、韓国が4ランク上昇し、日本は4位から6位に順位を下げている。

臨床論文数については、2008年から2012年に比べ、上位国に大きな変化は無かったが、スペインおよび中国が3ランク、日本が4ランク上昇している。

今回の集計結果は、日本の主要臨床研究論文数の国際順位の低下傾向は改善したが、一方で主要基礎研究論文数は世界トップレベルから後退する傾向にあることを示している（図1）。



注：1993年から2012年のデータは政策研ニュース No.25および No.35をもとに一部改変
出所：Web of Science をもとに作成（2015年1月30日現在）

1) 医薬産業政策研究所、「わが国における臨床医学研究の現状と国際比較」政策研ニュース No.25（2008年7月）、「主要基礎・臨床医学論文掲載数の国際比較」政策研ニュース No.35（2012年3月）を参照。2008年から2012年のデータは、政策研ニュース No.35のデータに2012年のデータを追加した。

表1 基礎及び臨床研究論文数の国際順位の推移

基礎研究論文						臨床研究論文							
	2003-2007		2008-2012		2013-2014			2003-2007		2008-2012		2013-2014	
順位	国名	総数	国名	総数	国名	総数	順位	国名	総数	国名	総数	国名	総数
1	米国	2674	米国	2580	米国	1095	1	米国	2677	米国	2724	米国	1050
2	ドイツ	442	ドイツ	504	ドイツ	232	2	イングランド	873	イングランド	901	イングランド	445
3	日本	369	イングランド	379	イングランド	165	3	カナダ	462	カナダ	562	カナダ	252
4	イングランド	314	日本	345	フランス	118	4	ドイツ	343	ドイツ	435	ドイツ	207
5	フランス	269	フランス	284	中国	99	5	フランス	300	フランス	403	フランス	179
6	カナダ	204	カナダ	222	日本	95	6	オランダ	294	オランダ	360	オーストラリア	171
7	スイス	166	スイス	182	オランダ	90	7	イタリア	279	オーストラリア	324	イタリア	165
8	イタリア	155	オランダ	177	カナダ	86	8	オーストラリア	260	イタリア	307	オランダ	149
9	オランダ	127	イタリア	163	スイス	86	9	スイス	252	スイス	302	スイス	112
10	オーストラリア	120	中国	130	オーストラリア	68	10	ベルギー	177	ベルギー	216	スペイン	103
11	スウェーデン	85	オーストラリア	122	イタリア	67	11	スウェーデン	166	スウェーデン	214	スウェーデン	100
12	オーストリア	67	スペイン	95	スペイン	48	12	スコットランド	145	スコットランド	189	ベルギー	98
13	中国	53	スウェーデン	91	スウェーデン	40	13	スペイン	141	スペイン	178	中国	82
14	スペイン	53	ベルギー	86	韓国	38	14	デンマーク	135	デンマーク	174	デンマーク	75
15	ベルギー	49	イスラエル	63	イスラエル	34	15	中国	102	南アフリカ	141	スコットランド	74
16	イスラエル	47	オーストリア	62	オーストリア	27	16	ノルウェー	86	中国	130	南アフリカ	62
17	スコットランド	47	スコットランド	52	スコットランド	26	17	フィンランド	79	ブラジル	122	ブラジル	59
18	韓国	39	韓国	48	デンマーク	23	18	日本	74	インド	115	インド	58
19	デンマーク	28	シンガポール	45	シンガポール	22	19	ブラジル	67	ポーランド	102	日本	53
20	フィンランド	20	デンマーク	37	ベルギー	19	20	ニュージーランド	67	ノルウェー	100	ポーランド	51
21	ブラジル	19	台湾	24	ポルトガル	15	21	南アフリカ	61	フィンランド	97	イスラエル	39
22	ノルウェー	19	ポルトガル	22	ノルウェー	10	22	ポーランド	60	オーストリア	88	ノルウェー	39
23	台湾	16	インド	21	ウェールズ	10	23	オーストリア	57	日本	82	パキスタン	38
24	アイルランド	14	フィンランド	21	フィンランド	9	24	イスラエル	51	アルゼンチン	81	フィンランド	38
25	シンガポール	14	ブラジル	20	台湾	9	25	インド	47	イスラエル	78	アルゼンチン	33

注：論文著者の全ての所属機関の所在地を集計しているため、国別の論文数には重複がある

出所：図1に同じ

表2 基礎及び臨床研究論文数の国際順位（2013-2014年）

基礎研究論文						臨床研究論文					
順位	国名	Nature Medicine	Cell	J Exp Med	総数	順位	国名	New Engl J Med	Lancet	JAMA	総数
1	米国	235	605	255	1095	1	米国	481	262	307	1050
2	ドイツ	54	107	71	232	2	イングランド	134	266	45	445
3	イングランド	30	83	52	165	3	カナダ	108	82	62	252
4	フランス	29	38	51	118	4	ドイツ	94	79	34	207
5	中国	30	44	25	99	5	フランス	88	65	26	179
6	日本	23	35	37	95	6	オーストラリア	61	80	30	171
7	オランダ	17	44	29	90	7	イタリア	76	64	25	165
8	カナダ	36	31	19	86	8	オランダ	56	64	29	149
8	スイス	17	35	34	86	9	スイス	31	65	16	112
10	オーストラリア	17	22	29	68	10	スペイン	50	43	10	103
11	イタリア	18	26	23	67	11	スウェーデン	43	38	19	100
12	スペイン	12	23	13	48	12	ベルギー	49	37	12	98
13	スウェーデン	10	17	13	40	13	中国	32	39	11	82
14	韓国	15	16	7	38	14	デンマーク	30	27	18	75
15	イスラエル	4	24	6	34	15	スコットランド	25	42	7	74
16	オーストリア	8	15	4	27	16	南アフリカ	22	34	6	62
17	スコットランド	6	13	7	26	17	ブラジル	18	31	10	59
18	デンマーク	6	13	4	23	18	インド	14	37	7	58
19	シンガポール	9	9	4	22	19	日本	19	22	12	53
20	ベルギー	4	7	8	19	20	ポーランド	25	19	7	51
21	ポルトガル	1	9	5	15	21	イスラエル	16	16	7	39
22	ノルウェー	4	5	1	10	22	ノルウェー	12	19	8	39
23	ウェールズ	1	3	6	10	23	パキスタン	7	28	3	38
24	フィンランド	3	4	2	9	24	フィンランド	12	19	7	38
25	台湾	1	4	4	9	25	アルゼンチン	14	14	5	33

出所：図1に同じ

医薬品産業における女性研究者の活用状況 －女性博士人材の活躍－

医薬産業政策研究所 主任研究員 白神昇平

科学技術分野は女性の活躍が進んでいない分野の一つとして挙げられており¹⁾、第4期科学技術基本計画において“女性研究者の採用目標値（自然科学系）を早期に25%を達成し、さらに30%を目指す”として、大学や公的機関において積極的な取組みが行われている。では、生物学・化学などの高度な科学・技術が重要な要素となっている医薬品産業²⁾においてはどのような状況であろうか。本稿では、医薬品産業における女性研究者の活用状況について報告する。

調査方法

2007年度及び2013年度の総務省統計局による科学技術研究調査のデータを用い、研究者の活用状況について性別及び産業別に集計した。製造業の産業分類については科学技術研究調査産業分類における中分類を用いた。

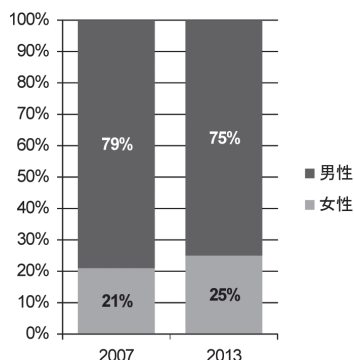
医薬品産業における研究関係従業者の活用状況

2007年度及び2013年度の医薬品産業及び製造業における研究関係従事者数（研究者・研究補助者・技能者・研究事務その他関係者の合計値）およびその内訳を表1に示した。組織体数が各年で異なるため厳密な比較はできないが、2007年度から2013年度にかけて研究関係者従業者数は、製造業で6%程度減少しているのに対し、医薬品産業は約2%増加している。この間の研究者数は製造業

が1.4%程度の減少を示し、医薬品産業は約7%の増加となっている。研究者のうち博士号取得者数に注目してみると、製造業で16,469人から19,171人と16.4%の増加であり、医薬品産業は3,290人から4,063人と23.5%の増加を示した。

医薬品産業についてみると、同様の期間における研究関係従業者数は男性が21,863人から21,550人と313人（1.4%）の減少であり、女性は8,882人から9,750人と868人（9.8%）の増加となっている。研究者数では男性が17,245人から17,510人に265人（1.5%）増加し、女性は4,597人から5,841人と1,244人（27.1%）の増加であり、女性研究者の増加が著しいことがわかる。この間の医薬品産業の研究者に占める女性の割合は21.0%から25.0%に向上しており、第4次科学技術基本計画の早期目標値（25%）と同等の値となっている（図1）。また、

図1 医薬品産業における性別研究者割合



出所：科学技術研究調査（総務省統計局）（<http://www.stat.go.jp/data/kagaku/index.htm>）を基に作成

1) 女性研究者数の国際比較において、日本は14.6%（2013年度）であり、イギリス（37.7%）、アメリカ（33.6%）、ドイツ（26.7%）と比べ低い水準である。総務省統計局発表の“統計トピックス No.80 我が国の科学技術を支える女性研究者－科学技術週間にちなんで－”を参照されたい。

2) 本文中に用いる“医薬品産業”は日本標準産業分類における“医薬品製造業”と同義とする。

表1 医薬品産業及び製造業の性別研究関係従業者数

	産 業	医薬品			製造業		
	年 度	2007	2013	増減率	2007	2013	増減率
	組 織 体 数	409	363		18,490	9,522	
総数 (人)	研 究 関 係 従 業 者	30,745	31,300	1.8%	620,370	582,810	-6.1%
	研 究 者	21,842	23,351	6.9%	468,155	461,485	-1.4%
	うち博士号取得者	3,290	4,063	23.5%	16,469	19,171	16.4%
	研 究 補 助 者	3,514	3,376	-3.9%	61,410	47,546	-22.6%
	技 能 者	1,759	1,017	-42.2%	52,382	39,333	-24.9%
	研 究 事 務 他 そ の	3,630	3,556	-2.0%	38,423	34,446	-10.4%
男性 (人)	研 究 関 係 従 業 者	21,863	21,550	-1.4%	547,265	514,556	-6.0%
	研 究 者	17,245	17,510	1.5%	433,799	424,905	-2.1%
	うち博士号取得者	-	3,721	-	-	18,077	-
	研 究 補 助 者	1,690	1,533	-9.3%	45,687	34,565	-24.3%
	技 能 者	766	502	-34.5%	46,129	35,213	-23.7%
	研 究 事 務 他 そ の	2,162	2,006	-7.2%	21,650	19,874	-8.2%
女性 (人)	研 究 関 係 従 業 者	8,882	9,750	9.8%	73,105	68,254	-6.6%
	研 究 者	4,597	5,841	27.1%	34,356	36,580	6.5%
	うち博士号取得者	-	342	-	-	1,094	-
	研 究 補 助 者	1,824	1,843	1.0%	15,723	12,981	-17.4%
	技 能 者	993	515	-48.1%	6,253	4,120	-34.1%
	研 究 事 務 他 そ の	1,468	1,550	5.6%	16,773	14,572	-13.1%

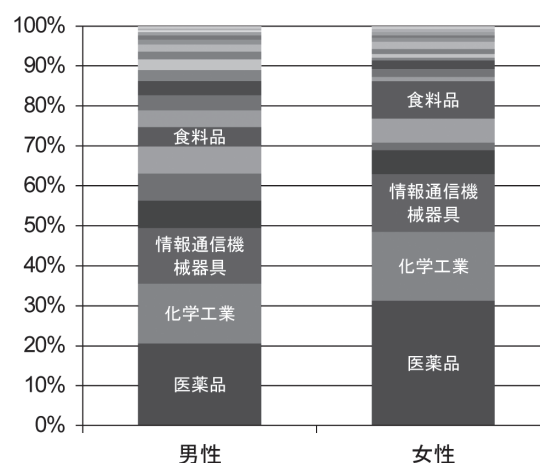
出所：図1に同じ

2013年度のデータで明らかになった博士号取得者数は男性が3,721人、女性が342人であり、女性の割合は8.4%であった。男性研究者における博士号取得率を算出すると、21.3%であった。一方、女性研究者については5.9%と、男性に比べ低い水準となっている。

博士号取得者数の産業別及び性別比較

2013年度の製造業全体における研究者のうち博士号取得者数は19,171人（男性18,077人、女性1,094人）である。医薬品産業における博士号取得者数（4,063人）は製造業の中で最も多く、製造業全体の21.1%を占めている。次いで化学工業（2,890人、15.1%）、情報通信機械器具製造業（2,677人、14.0%）の順で博士号取得率が高い。（表2）

図2 製造業における産業別博士号取得者割合（2013年度）



出所：図1に同じ

表2 製造業における産業別及び性別研究者数（2013年度）

	組織体数	男性				女性				博士号 取得者 女性割合
		研究者数	産業別 構成割合	うち博士号 取得者数 (再掲)	産業別 構成割合	研究者数	産業別 構成割合	うち博士号 取得者数 (再掲)	産業別 構成割合	
製 造 業	9,522	424,905	100.0%	18,077	100.0%	36,580	100.0%	1,094	100.0%	5.7%
医 薬 品	363	17,510	4.1%	3,721	20.6%	5,841	16.0%	342	31.3%	8.4%
化 学 工 業	1,277	30,219	7.1%	2,701	14.9%	5,310	14.5%	189	17.3%	6.5%
情 報 通 信 機 械 器 具	387	88,362	20.8%	2,519	13.9%	5,341	14.6%	158	14.4%	5.9%
電子部品・デバイス・電子回路	498	36,157	8.5%	1,232	6.8%	1,799	4.9%	65	5.9%	5.0%
電 気 機 械 器 具	852	39,153	9.2%	1,228	6.8%	2,118	5.8%	21	1.9%	1.7%
業 務 用 機 械 器 具	835	46,377	10.9%	1,227	6.8%	4,071	11.1%	66	6.0%	5.1%
食 料 品	622	9,632	2.3%	880	4.9%	3,891	10.6%	102	9.3%	10.4%
輸 送 用 機 械 器 具	448	64,789	15.2%	764	4.2%	2,219	6.1%	12	1.1%	1.5%
鉄 鋼 業	154	4,776	1.1%	673	3.7%	184	0.5%	22	2.0%	3.2%
生 産 用 機 械 器 具	1,364	26,463	6.2%	648	3.6%	832	2.3%	23	2.1%	3.4%
は ん 用 機 械 器 具	276	14,780	3.5%	501	2.8%	598	1.6%	8	0.7%	1.6%
非 鉄 金 属	214	5,881	1.4%	478	2.6%	370	1.0%	10	0.9%	2.0%
織 維 工 業	152	4,710	1.1%	362	2.0%	682	1.9%	13	1.2%	3.5%
窯 業 ・ 土 石 製 品	414	5,626	1.3%	313	1.7%	429	1.2%	20	1.8%	6.0%
プ ラ ス チ ッ ク 製 品	485	7,686	1.8%	219	1.2%	657	1.8%	11	1.0%	4.8%
石 油 製 品 ・ 石 炭 製 品	78	1,743	0.4%	189	1.0%	152	0.4%	7	0.6%	3.6%
ゴ ム 製 品	136	6,123	1.4%	155	0.9%	437	1.2%	9	0.8%	5.5%
印 刷 ・ 同 関 連 業	52	1,794	0.4%	81	0.4%	339	0.9%	1	0.1%	1.2%
そ の 他 の 製 造 業	149	6,165	1.5%	79	0.4%	768	2.1%	7	0.6%	8.1%
金 属 製 品	471	5,504	1.3%	73	0.4%	279	0.8%	6	0.5%	7.6%
パ ル プ ・ 紙 ・ 紙 加 工 品	297	1,455	0.3%	34	0.2%	263	0.7%	2	0.2%	5.6%

出所：図1に同じ

医薬品産業の男女別の産業別割合をみると、男性は3,721人で製造業のうちの20.6%、女性は342人で製造業の31.3%を占めており、他の製造業種と比べて男女とも最も大きな割合となっている。医薬品産業は、男性・女性ともに製造業の中での高度人材の活躍の場となっていることがわかる（図

2）。

ただ、医薬品産業の女性の博士号取得者数（342人）は、医薬品産業の男性の博士号取得者数（3,721人）と比較すると10分の1以下となっており、まだまだ女性の活躍の場を広げる余地はあるものと思われる。

主な活動状況（2014年11月～2015年2月）

11月	1日	政策研ニュース No.43発行	
	15日	リサーチペーパー・シリーズ No.63発行	「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績－2000～2013年承認品目－」 医薬産業政策研究所 前主任研究員 源田浩一 東京大学大学院薬学研究科医薬品評価科学講座 准教授 小野俊介
	17日	講演	「バイオベンチャー企業と製薬企業、創薬パートナーになるために意識の差をどのように埋めるか」 医薬産業政策研究所 首席研究員 小林和道 （武蔵野大学大学院 豊島教授との共同研究、DIA JAPAN 2014 11th Annual Meeting にて）
12月	5日	講演	「医薬品 2 兆円の輸入超過説とグローバル時代における日本の医薬品開発」 医薬産業政策研究所 前統括研究員 長澤 優 （第35回日本臨床薬理学会学術総会にて）
	6日	学会発表	ポスター発表「新薬の臨床開発と承認審査期間－2013年調査結果を踏まえ－」 医薬産業政策研究所 主任研究員 加賀山貢平 （第35回日本臨床薬理学会学術総会にて）
	17日	講演	「“The Japanese Pharmaceutical Industry”」 医薬産業政策研究所 所長 奥田 齊 （Tokyo Consortium, Disease Prevention Science Course, MEXT Support Program for the education reform of national, public and private universities にて）
1月	30日	産業レポート No.5 発行	「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 第二部：患者を取り巻く環境変化 医薬産業政策研究所

レポート・論文紹介（2014年11月～）

日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績

－2000～2013年承認品目－

（リサーチペーパー・シリーズ No.63）

医薬産業政策研究所 前主任研究員

源田浩一

東京大学大学院薬学研究科 医薬品評価科学講座 准教授 小野俊介

2014年11月

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～

（産業レポート No.5）

第一部：イノベーションと新薬創出

第二部：患者を取り巻く環境変化

医薬産業政策研究所

2015年1月

Analysis of Perception Gap on Alliance Activities between Japanese Biotechnology Venture Companies and Pharmaceutical Companies

（レギュラトリーサイエンス学会誌 Vol.5（2015）No.1）

武蔵野大学大学院薬科学研究科 レギュラトリーサイエンス研究室

下川昌文

武蔵野大学大学院薬科学研究科 レギュラトリーサイエンス研究室

關野一石

武蔵野大学大学院薬科学研究科 レギュラトリーサイエンス研究室 教授

豊島 聡

医薬産業政策研究所 首席研究員

小林和道

2015年1月

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所
OPIR

Office of Pharmaceutical Industry Research

政策研ニュース

2015年3月発行

〒103-0023

東京都中央区日本橋本町3-4-1

トリイ日本橋ビル5階

TEL 03-5200-2681

FAX 03-5200-2684

MAIL opir-sp@jpma.or.jp

<http://www.jpma.or.jp/opir/>

無断転載を禁ずる