

ポジションペーパー

米国EBP由来医薬品に関する調査

-バイオ品と低分子品の比較-

医薬産業政策研究所

本ポジションペーパーは医薬産業政策研究所から発出された研究成果であり、日本製薬工業協会の公式な見解ではない

目次

背景と目的、調査方法

1. 米国EBP由来品

1. 品目特徴

2. 品目創出EBP特徴

2. 米国アカデミア由来品

3. まとめと考察

Appendix

背景と目的、調査方法

背景と目的

背景

- ✓ 新薬創出の世界的潮流において、バイオ医薬品数とその市場規模は年々拡大しており、その中でも新興企業(Emerging Biopharma, EBP)の存在力が増していると言われている。
- ✓ 現在米国は創薬の場において世界の中心であり、前回のポジションペーパーにて、米国が創出する医薬品のモダリティのうち全体の約半数を占める低分子品における米国EBPの活動について調査報告し、低分子におけるEBPの存在感が非常に高いことが分かった。

目的

- ✓ そこで本論では、バイオ品創出に米国のEBPが実際にどの程度貢献しているか、低分子品と比較してどのような特徴をもつかを可視化することで、日本の創薬研究活性化を考えるうえでの一助となるのではないかと考え、以下の研究を行った。
 - 2013-2023年に2極以上で承認を受けた米国EBP由来のバイオ医薬品に関して品目を調査し、低分子品と比較することでその特徴を抽出した。
 - バイオ品ではアカデミア由来を含む基本特許の数およびその割合が低分子より高かったことから、EBP由来品に加えて、米国アカデミア由来品の特徴を抽出した。
 - 米国EBP由来品について、低分子品とバイオ品の比較をした。

調査方法

調査方針

- ✓ 米国由来のグローバル品目について、薬効分類、Dealの実態を把握し、その特徴を体系的に整理した。
- ✓ バイオ品を創出した米国EBPおよびアカデミア品をライセンスインしたバイオ品創出のEBPの特徴を把握し、体系的に整理した。

◆ 調査対象品

- PMDA、FDA、EMAの各公開情報を基に、日米欧各極でNMEとして承認された品目のうち、2013-2023年に2極以上で承認を受けた品目（グローバル承認品目）とした。

◆ 本論での企業分類

- EBP (Emerging Biopharma) : 1990年以降に設立され、グローバル承認品について最初の特許公開年の売り上げが5億ドル未満の企業。
- 製薬メーカー : 1990年より前に設立された製薬メーカー。
- メガファーマ : 2024年時点での世界売上高上位20位までの製薬メーカー。

◆ 基本特許の調査方法

- 当該医薬品の鍵となる特許をCortellis Competitive Intelligenceで調査、さらに明日の新薬（テクノミック制作）や特許関連データベース等で補完した。
- 個人での特許出願については、組織情報が不明なため、解析から除外した。

◆ グローバル品解析方法

- ATC分類、米国開発における権利譲渡（提携）の有無、譲渡時のステージ及びアップフロント、各品目の売上は、Evaluate Pharma®（2024年5月時点）と明日の新薬（テクノミック制作）情報を基に、関連データベースや企業ホームページにて補完した。

◆ 品目創出機関の解析方法

- EBP由来品については、グローバル承認品目数、IPO時期、買収の有無、買収された場合は買収元と年度と買収金額、設立者及びその出自、ファイナンス状況、各企業の保有する強みの一覧を作成した。
- アカデミア由来品とは基本特許出願機関にアカデミアが含まれている品目。
- アカデミア由来品については、最初にその品目をライセンスインした企業を特定し、その特徴を調査した。
- 各種情報はEvaluate Pharma®（2024年5月時点）の情報を基に、企業のホームページ、Pitchbook、LinkedInなどで補完した。

基本特許について

- ✓ 当該医薬品の鍵となる基本特許の出願人・出願機関に着目し、基本特許を出願した企業を特定した。

医薬品研究プロセス

アカデミアから多くの論文発表

病態メカニズム解明
発症キーファクター同定
(基本は複数あり)



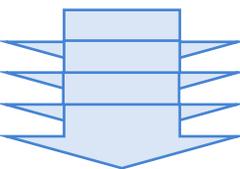
標的ターゲットを絞る



標的へのアクセス分子
探索開始



最適アクセス分子決定



医薬品として承認

Dupilixentの例

アトピー性皮膚炎
Th2-related cytokines
IgE, histamine,
neuropeptides, etc...

Interleukin-4/13R

当該受容体への特異性の高い
抗体取得のためのエンジニアリング

Dupilumab

基本特許出願

- 医薬品の研究プロセスにおいては、アカデミアからの知見を基に、標的ターゲットを絞り、アクセス分子を探索することで、開発候補品となる最適アクセス分子を決定する（左図）。
- 医薬品では最適アクセス分子の新規性・進歩性が極めて重要であるが、この分子に対する基本特許は原則として一つである。そのため基本特許を取得できれば製品化による独占的利益を得られる。
- そこで本研究における医薬品と企業の紐づけについては、当該医薬品の鍵となる基本特許の出願人・出願機関に着目し、調査対象製品の鍵となる基本特許を特定した。細胞治療等の場合はアクセス分子ではないが同様の扱いとした。

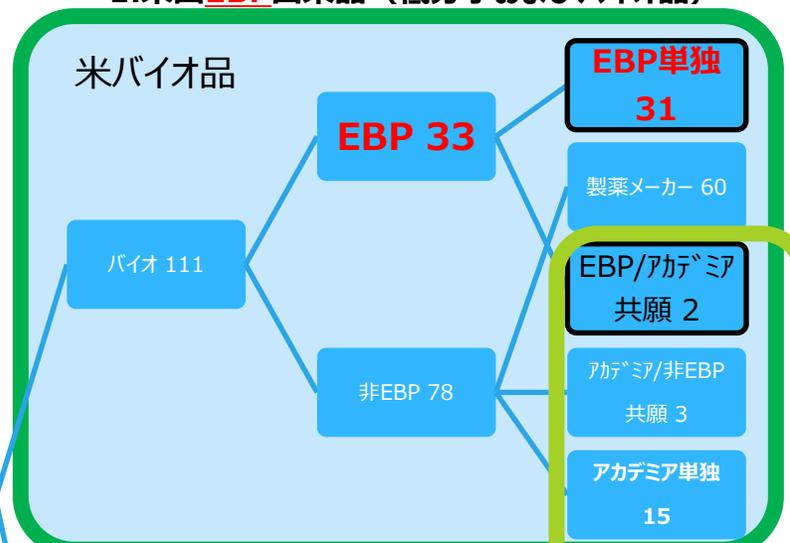
調査対象

2013-2023年に2極以上で承認を受けたNME 413品目を出願機関の国・属性別、低分子・バイオ別に分類した。

1. 米国EBP由来品 (低分子およびバイオ品)

米国EBP由来バイオ品

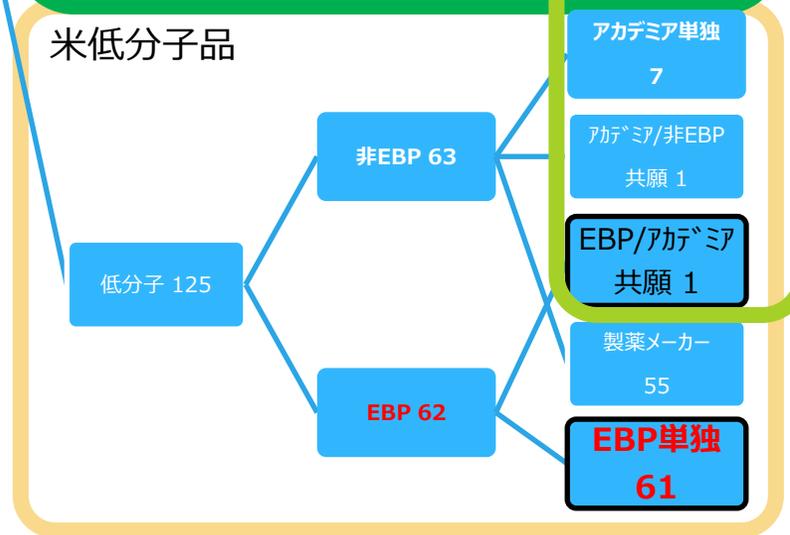
- EBP由来品は**33品目**で、非EBP由来**78品目**の**半分以下**であった。
- EBP由来品のうち基本特許に記載された出願人の所属機関は、**31品目**が企業単独出願であった。
- その一方EBP/アカデミア共願品は**2品目**であった。



2. 米国アカデミア由来品*

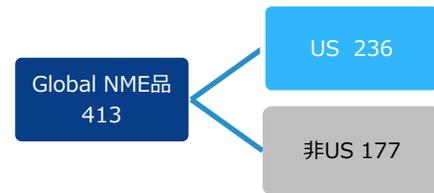
- 出願人を製薬メーカー、EBPと特定した品目については、アカデミアの関与が特許情報に記載がなく把握できなかった。
- 特許出願人にアカデミア所属が含まれる製品も一部存在した、低分子9/バイオ20。
- これらの品目については、特許出願前後の挙動に特徴があると考え、別途解析した。

*アカデミア由来品：基本特許出願機関にアカデミアを含む品目



米国EBP由来低分子品

- EBP由来品は**62品目**で、非EBP由来**63品目**と同程度であった。
- EBP由来品のうち基本特許に記載された出願人の所属機関は、**61品目**が企業単独出願であった。
- その一方EBP/アカデミア共願品は**1品目**であった。



バイオ品20
低分子品9

出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Cortellis Competitive Intelligence、明日の新薬（テクノミック制作）、Evaluate Pharma®（2024年5月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 出典：医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国EBPに関する調査」ポジションペーパー No.5：2024年12月発行

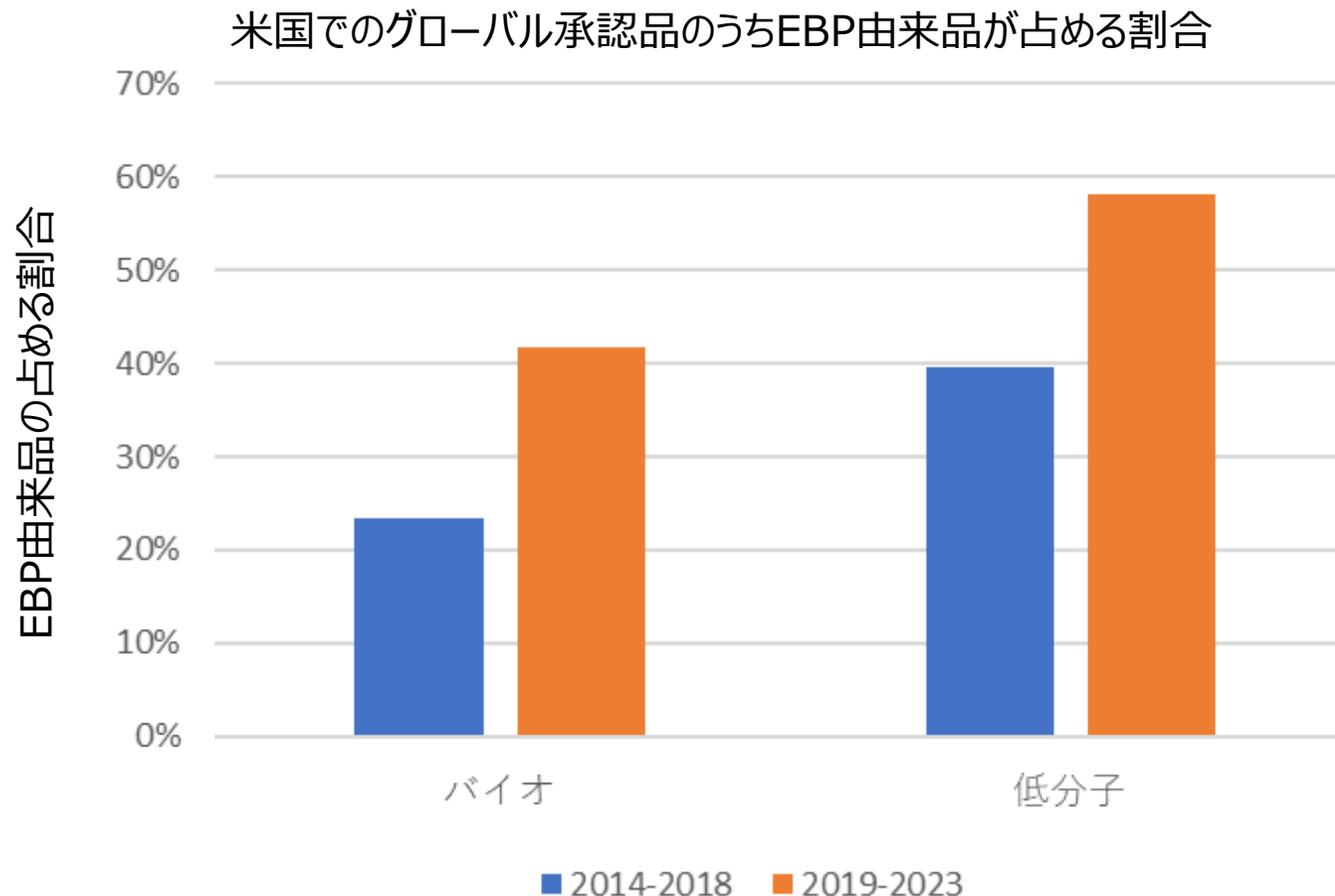
1. 米国EBP由来品

1. 品目特徴

2. 品目創出EBP特徴

グローバル承認医薬品のうち米国EBP由来品が占める割合の変化

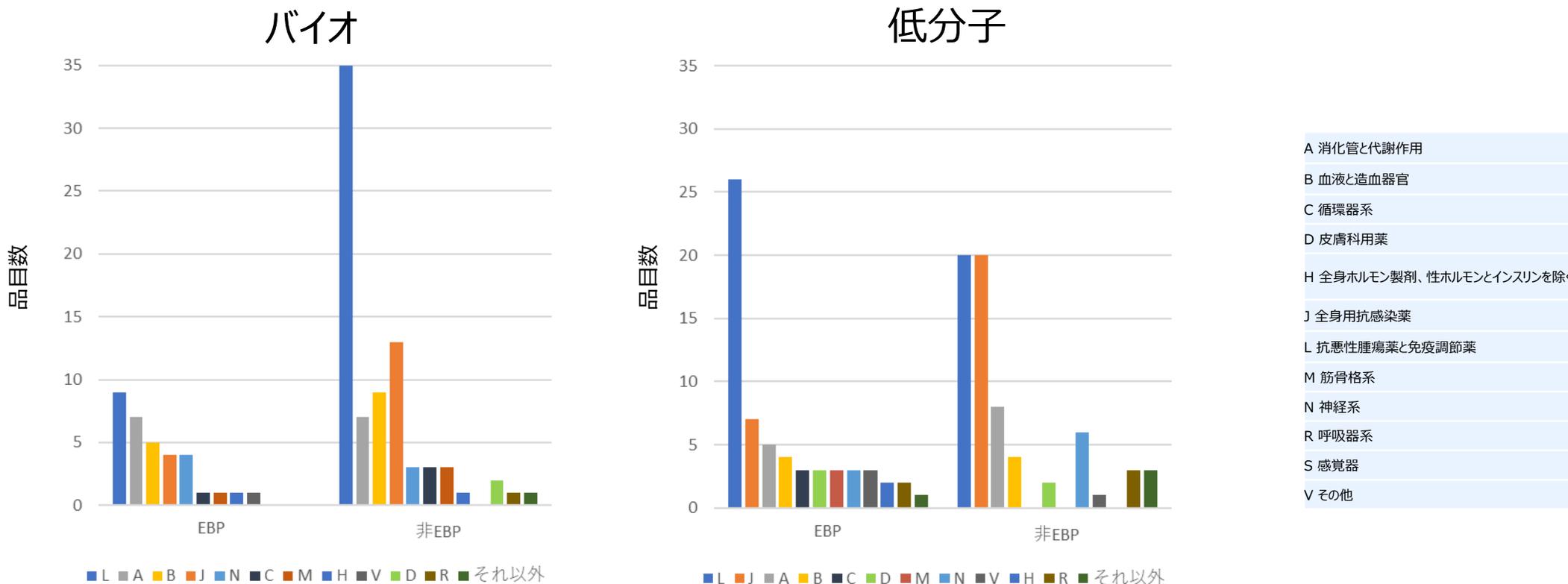
- 米国でのグローバル承認医薬品における米国EBP由来品の割合は、2014-2018年に比べて2019-2023年では、バイオ品（約20→40%）、低分子品（約40→60%）ともに上昇していた。どちらも20ポイント近く上昇。



米国EBP由来/非EBP由来品のATC分類別・バイオ/低分子別品目数比較

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research

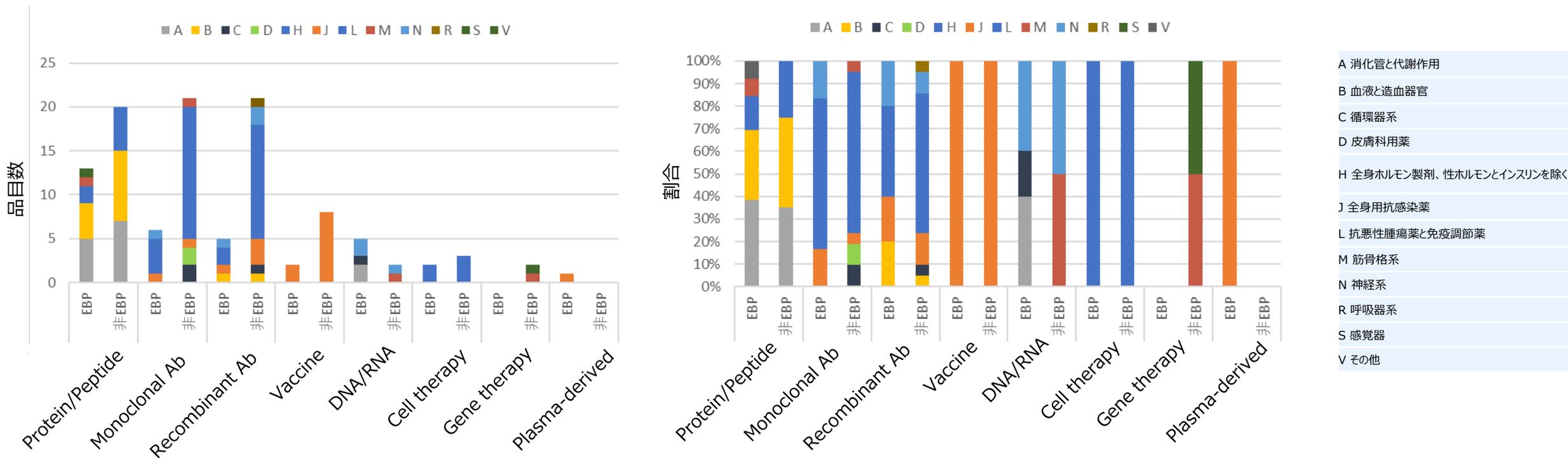
- EBP品と非EBP品でどちらもL分類（抗悪性腫瘍/免疫調整）が最多であったが、モダリティ別で傾向が異なっていた。
- バイオ品では、EBP由来品ではL分類に次いでA分類（消化管/代謝）/B分類（血液/造血器官）が多かったのに対して、非EBP由来品ではL分類が突出して多く次いでJ分類（抗感染症）であった。
- 低分子品では、EBP品ではL分類が突出していた一方、非EBP品ではL分類とJ分類が同数であった。



米国EBP由来/非EBP由来のバイオ品のモダリティ別薬効分類比較

- EBPはProtein/Peptideが、非EBPはAntibody (monoclonal 及び recombinant)が多かった。
 - その中でProtein and peptideはA/B領域が、AntibodyはL領域が多かった。
- 各モダリティの薬効分類別比率は、EBPと非EBPの間で差はなく、領域によって最適なモダリティが選択されていたと考えられる。

米国EBP由来バイオ品の薬効分類別みたモダリティ



Recombinant antibody: 遺伝子組み換え技術による抗体作成
 Monoclonal antibody: Bセルハイブリドーマ由来クローン化技術による抗体作成

グローバル承認品目のEBP/非EBP由来別・バイオ/低分子別・公開時期別・基本特許数と割合

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research

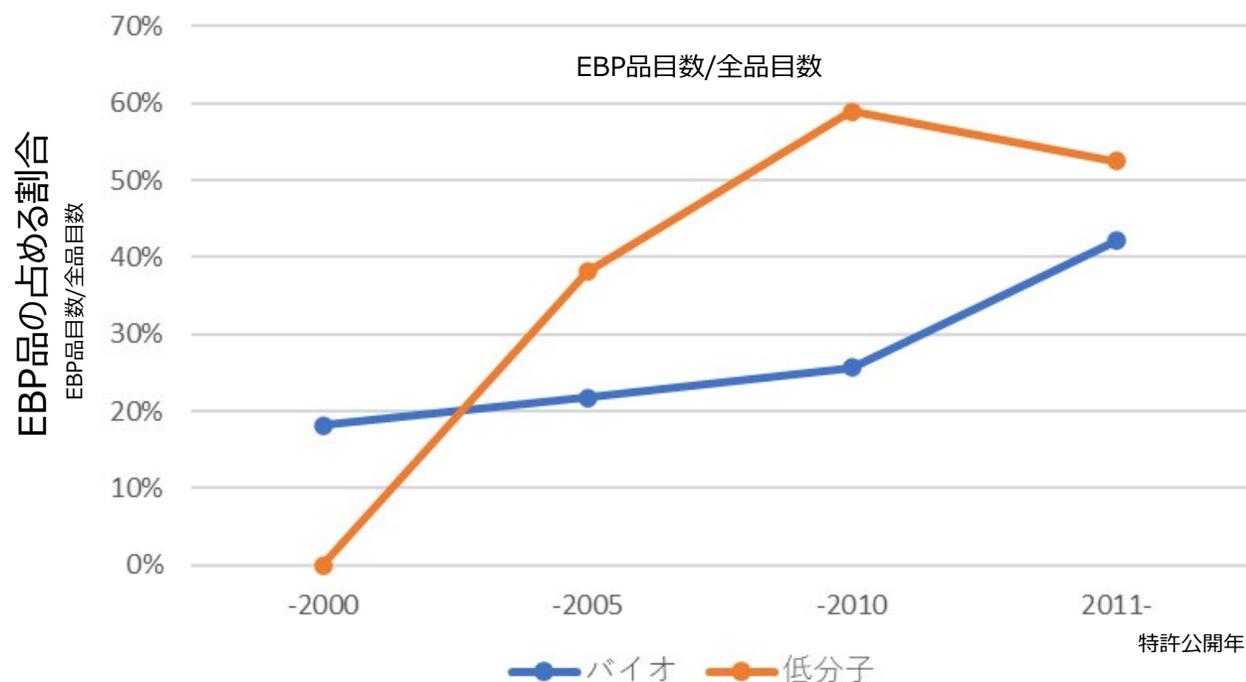
- グローバル承認品目数に対するEBP由来品の割合についてバイオ・低分子別・特許公開年別にみると、低分子品では2010年まで増加し60%程度で横ばい、バイオ品では2011年以降も増加して40%程度となっていた。
- 低分子品のほうがバイオ品よりEBP由来が占める比率の立ち上がりは早かった。

基本特許公開数

バイオ	-2000	-2005	-2010	2011-
EBP	2	5	10	16
非EBP	9	18	29	22

低分子	-2000	-2005	-2010	2011-
EBP	0	8	33	21
非EBP	12	13	23	19

グローバル品の基本特許のうちEBP由来品が占めるバイオ/低分子別割合

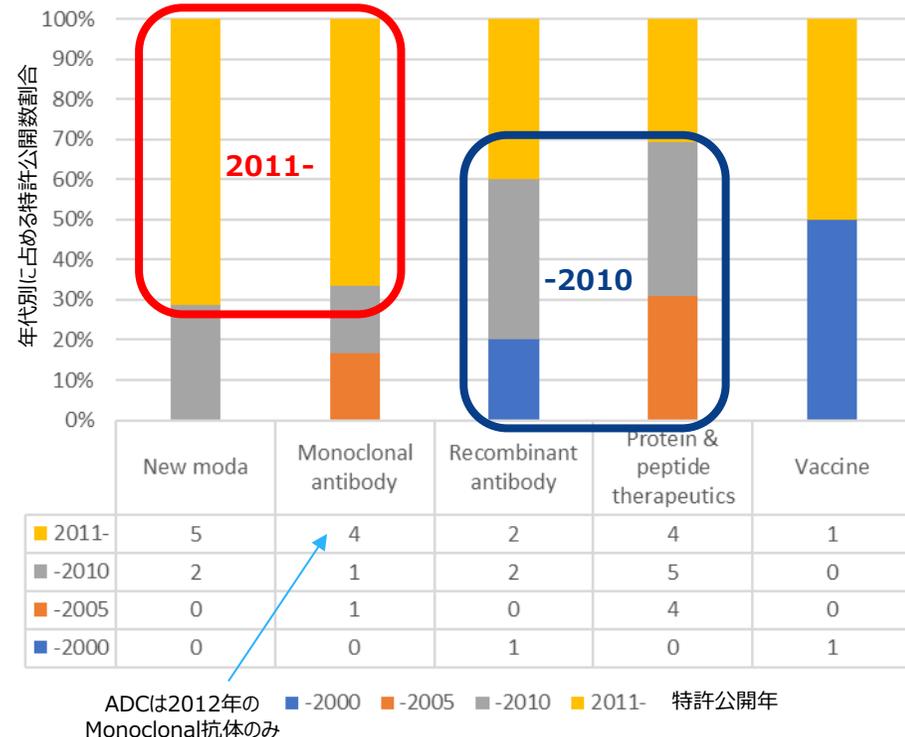


米国EBP由来品の特許公開時期別モダリティの特徴

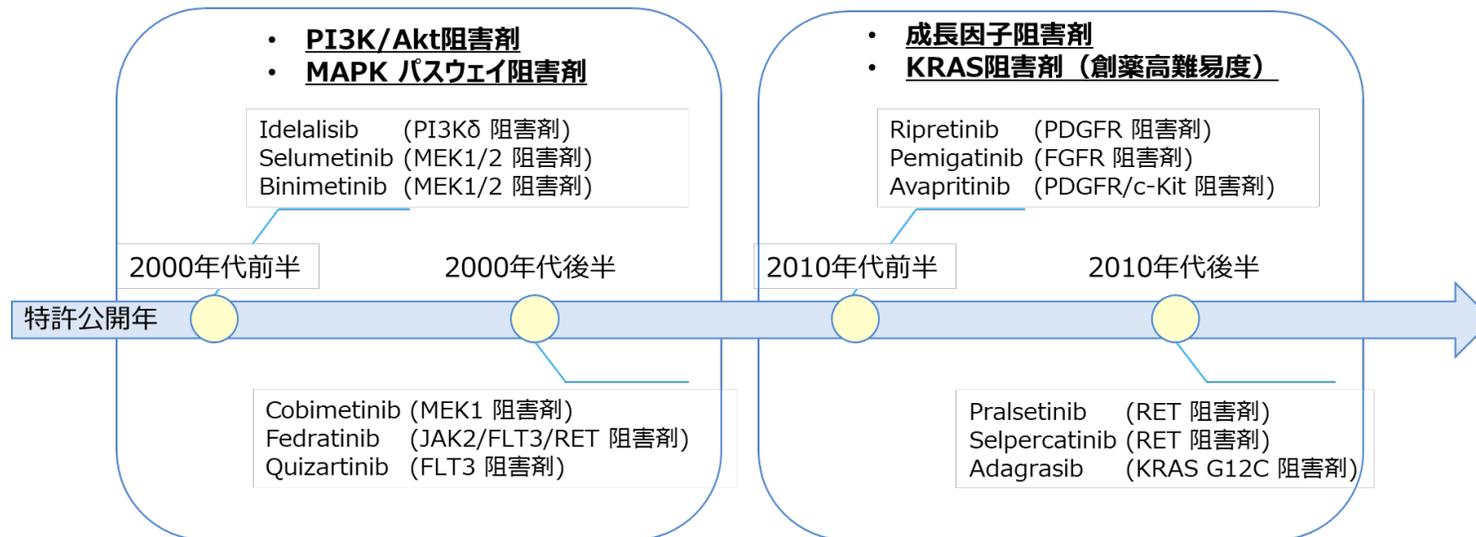
米国EBP由来品の特許公開時期別の各モダリティを見ると、

- バイオ品では2010年以前はリコンビナント抗体や蛋白製剤が隆盛、2011年以降は特にモノクローナル抗体とそれ以外のNew moda (Cell therapy, gene therapy, plasma derived) の数が増え、モダリティのトレンドが変化した。
- 低分子品では米国EBP由来キナーゼ阻害剤の特許公開時期を並べてみたところ、明確な研究開発のトレンドが読み取れた。背景には蛋白構造解析などのbreakthroughや母核構造の進展があると考えられた。
- EBP品の占める割合が低分子のほうが早く高くなったこととして、低分子はLキナーゼが多いことから、やりやすさ重視し一気に参入障壁が低くなった一方、バイオ品領域ではモダリティ自身のトレンドの変化が見られ新規モダリティにシフトしたが、参入障壁はそれほど低くならなかった可能性が考えられた。

EBP由来バイオ品特徴



EBP由来低分子品特徴



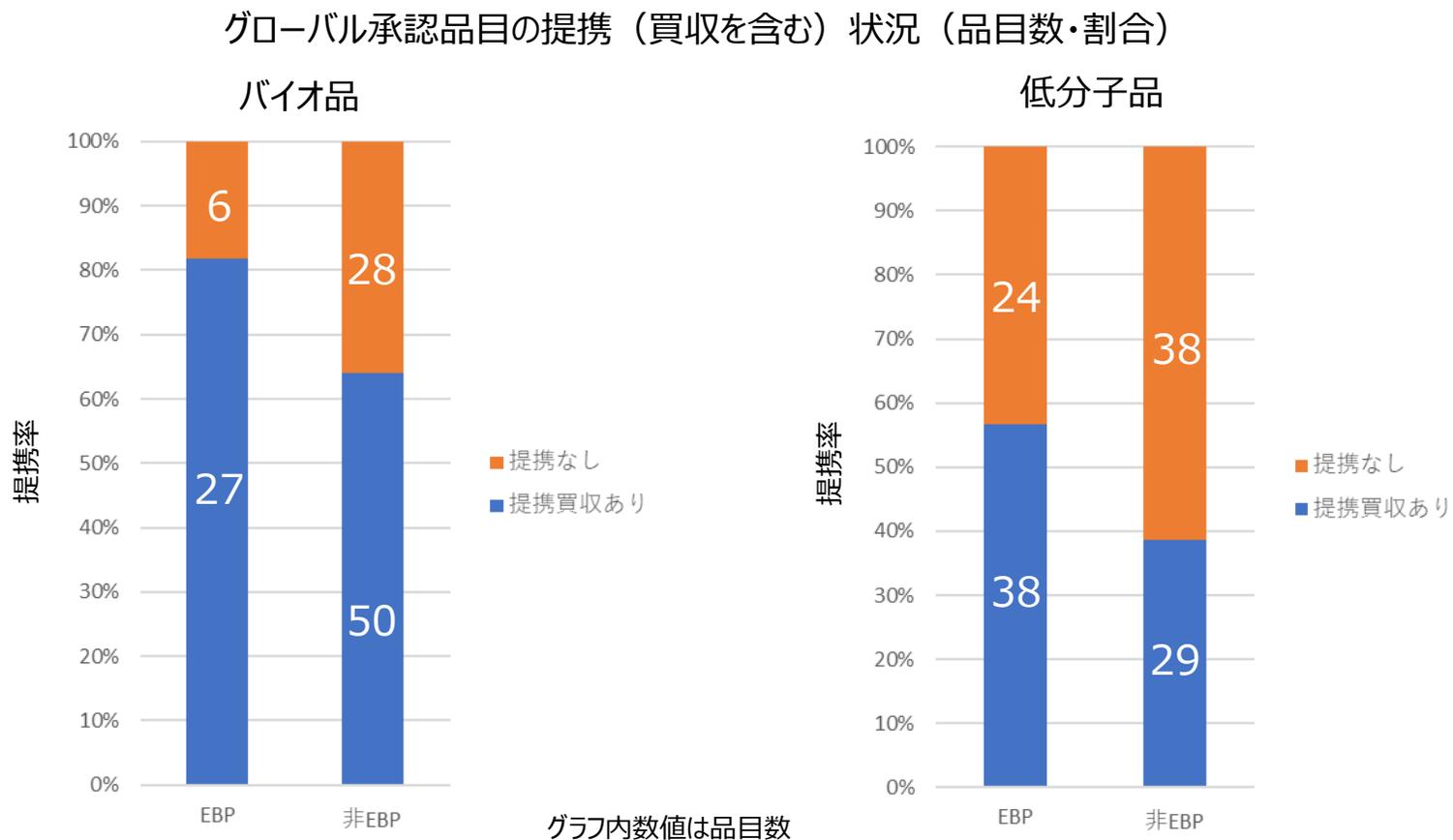
出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Cortellis Competitive Intelligence、明日の新薬（テクノミック制作）、Evaluate Pharma®（2024年5月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

出典：医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国EBPに関する調査」ポジションペーパー No.5：2024年12月発行

グローバル承認品目のEBP/非EBP由来別・バイオ/低分子別提携状況（企業買収を含む）

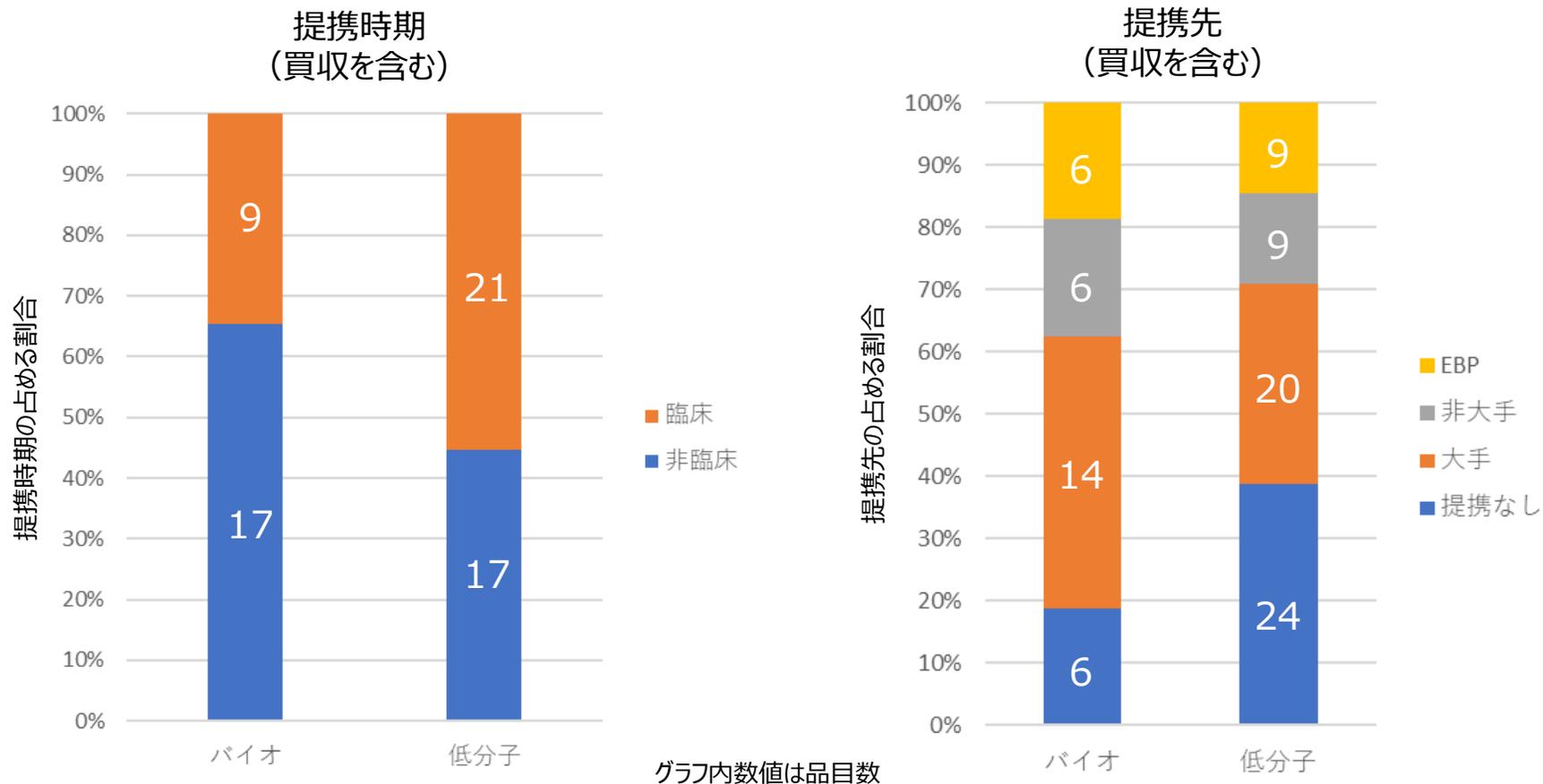
OPiK
Office of Pharmaceutical Industry Research

- バイオ品は低分子品に比べて提携率が高く、EBP由来品においては約80%が提携していた。



米国EBP由来バイオ/低分子別・提携時期、提携先（企業買収を含む）

- EBP由来バイオ品は低分子品に比べて、非臨床段階での提携が多くなっていた。
- EBP由来バイオ品の提携先は大手が多かった。



1. 米国EBP由来バイオ品

1. 品目特徴

2. 品目創出EBP特徴

米国EBPにおけるバイオ/低分子品創出企業の特徴比較

2013-2023年に2極以上で承認を受けたバイオNME 33品目を創出した米国EBP 27社について調査し、低分子品を創出したEBP（62品目、48社）と比較した。

バイオ品創出企業は低分子品創出企業と比べて、

- 創始者バックグラウンドでは大学出身比率が相対的に高く、製薬出身者およびその役職経験者の関与は（率は高いが）相対的には低かった。
 - また、バイオテック企業やVCでのキャリアを経由したが多かった。
- 製薬企業出身者の関与では、製薬・バイオテック・大学・VCなど複数領域にまたがったマルチキャリアを有する者がいる企業が大部分を占めた。
- また、ターゲットや化合物探索において技術的な特徴を有する企業の比率が高かった。

企業分類	創始者数 (平均)	創始者バックグラウンド			製薬企業出身者の関与			特徴***		
		大学	製薬企業	バイオ・EBP ・VC等*	役職 経験者	メガ在籍	マルチキャリア**	領域	技術	人材
バイオ	2.6人	63%	59%	56%	75%	62%	94%	56%	85%	30%
低分子	2.1人	42%	58%	46%	93%	64%	71%	56%	58%	29%

複数のFounderがいて役割が違う場合もカウントするので、合計は100%を超える

*製薬企業やアカデミア出身でないバイオベンチャーやVC出身者など

**マルチキャリア：当該企業の起業前に複数の機関（製薬企業、アカデミア等）に所属経験あり

***特徴

領域：一つの疾患領域（または臓器）にターゲットを絞って薬剤研究をする

技術：ターゲットや化合物探索において他よりも秀でた技術を有する

人材：特定領域において著名な人材（賞受賞者や第一人者）を有する

米国EBPにおけるバイオ/低分子品創出企業の資金調達、売上等比較

2013-2023年に2極以上で承認を受けたバイオNME 33品目を創出した米国EBP 27社について調査し、低分子EBP（62品目、48社）と比較した。

バイオ品創出企業は低分子品創出企業と比べて（1社あたり中央値での比較）、

- NIH Grant獲得額はほぼ同じであった。
- VCからの投資額は、バイオ品創出企業の方が多かった（約150万ドル）。
- IPO達成までの期間は、バイオ品創出企業の方が短かった（約4年）。
- 1品目当りピーク年売上高は、バイオ品創出企業のほうが高かった（約3.0億ドル）。
- これらの結果から、バイオ品は薬効や毒性が予測しやすい一方で、初期の製造などには多額の資金が必要なため、臨床に入る前の早い段階で、提携等により臨床開発やそれに必要な原薬供給などの資金を確保している可能性が考えられる。

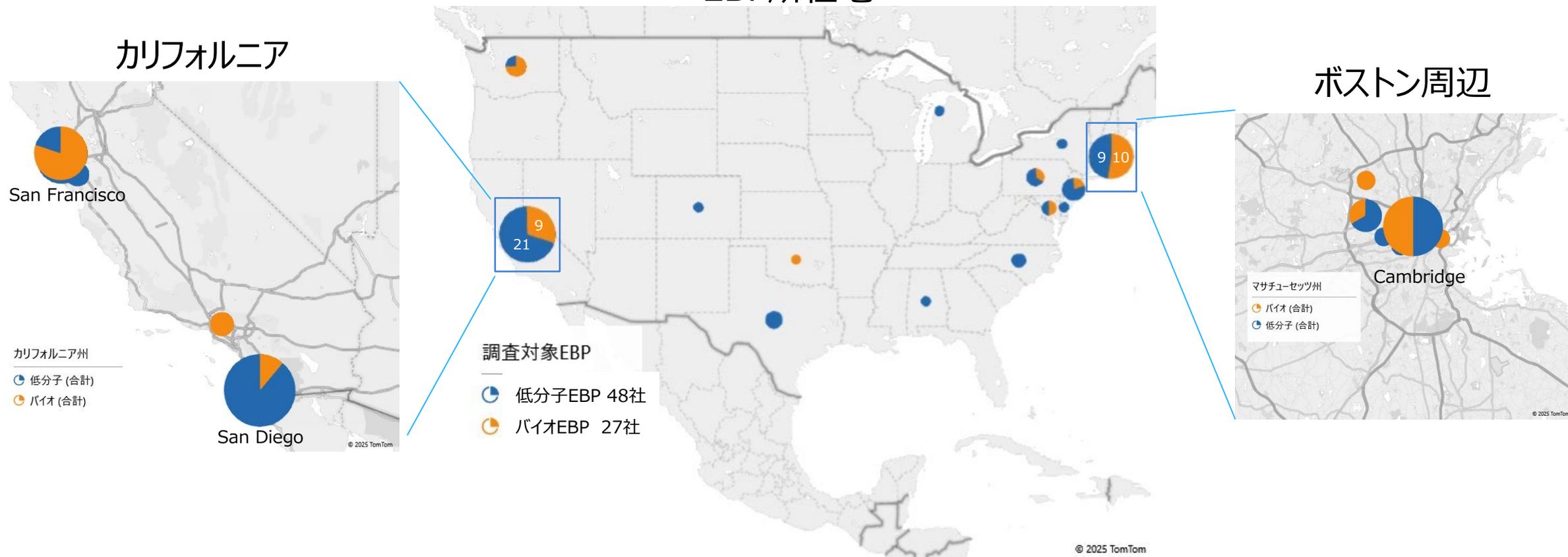
	NIH Grant獲得額 (\$M)	初期投資額 VCより3年以内 (\$M)	IPOまでの投資額 (\$M)	期間 (Year)	1品目当りの ピーク年売上高 (\$M)
バイオ品	1.51 (12)	28 (12)	131 (12)	4.0 (19)	298 (21)
低分子品	1.45 (14)	17 (35)	83 (28)	6.0 (28)	130 (59)

値はすべて中央値（括弧内は調査できた企業数）

調査対象の米国EBPバイオ/低分子品創出企業別所在地

- 所在地は、ボストン近郊とカリフォルニア（バイオ品：サンフランシスコ、低分子品：サンディエゴ）に偏っていた。
- バイオ品創出企業は低分子品創出企業に比べて、クラスター集積度が高かった。

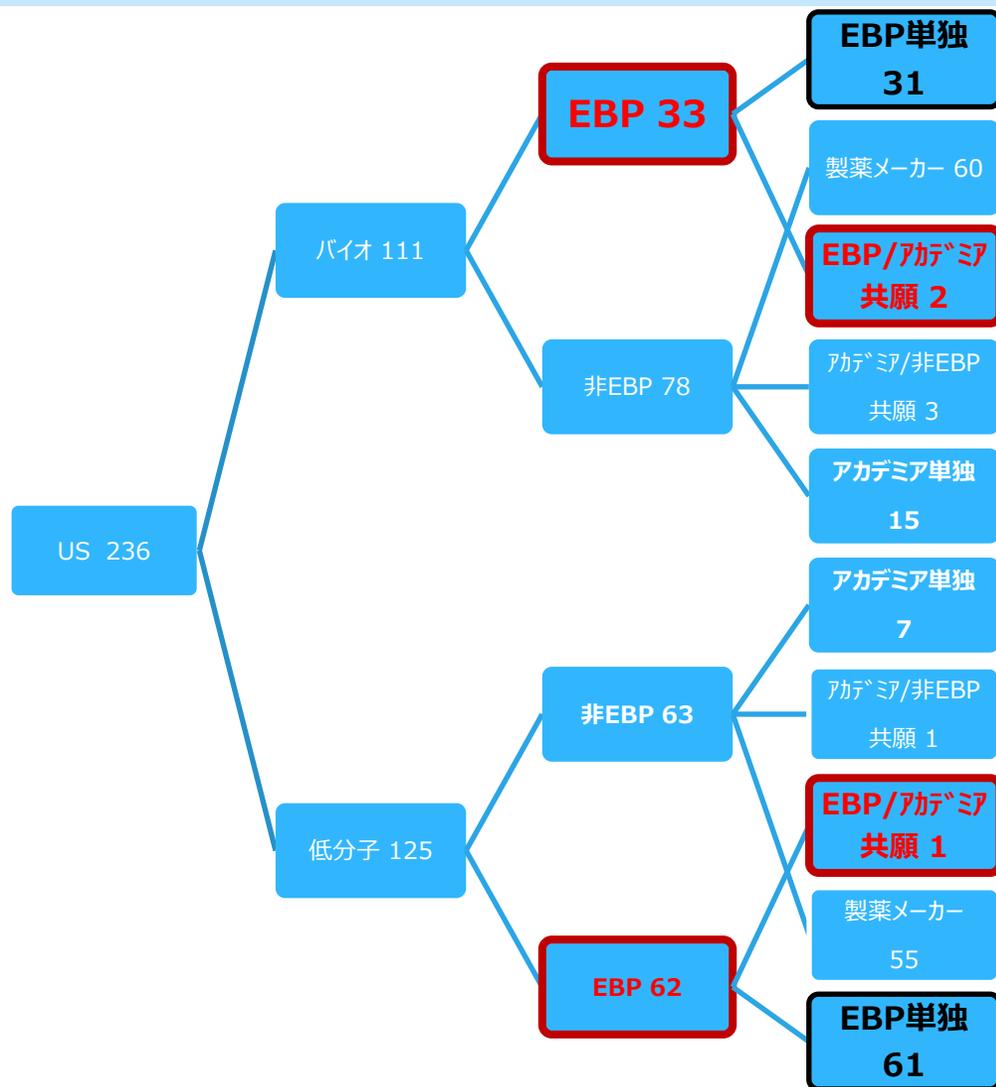
EBP所在地



2. 米国アカデミア由来品の特徴

グローバル承認品目の米国由来品のうち、EBPとアカデミアの共出願品目の状況

- 2013-2023年に2極以上で承認を受けたNMEの米国由来品のうち、EBPとアカデミアが共出願していた品目は少数（バイオ品2品目、低分子品1品目）で、EBP由来品に占める割合としても低かった。

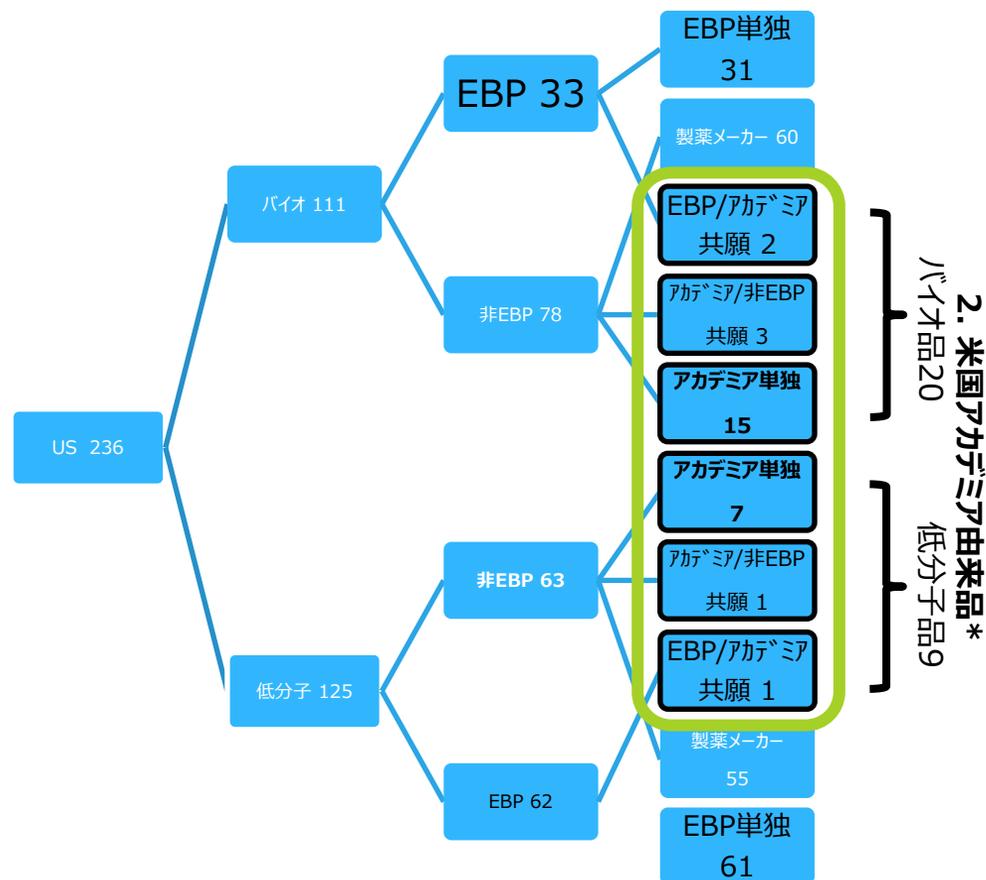


	バイオ品	低分子品
EBP由来品	33	62
アカデミアと共願	2	1
EBP由来品に占める割合	6%	2%

出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Cortellis Competitive Intelligence、明日の新薬（テクノミック制作）、Evaluate Pharma®（2024年5月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 出典：医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国EBPに関する調査」ポジションペーパー No.5：2024年12月発行

米国アカデミア由来のグローバル承認品目の米国由来品全体に占める割合

- 米国アカデミア単独由来品は、バイオ品が15品目に対して、低分子品は7品目であった。
- 共願まで含めたアカデミア関与由来品は、バイオ品が20品目に対して、低分子品は9品目であった。
- 米国アカデミア単独由来品にアカデミア/企業共願品を加えた関与由来品が全体に占める割合は、バイオ品では18%、低分子品では7%であった。
- バイオ品は低分子品に比べてアカデミアの関与がより強かった。



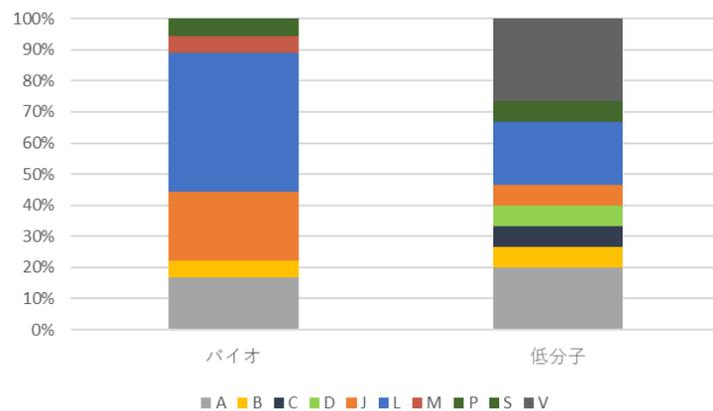
	バイオ品	低分子品
グローバル承認品目米国由来品数 (A)	111	125
アカデミア単独由来品目数 (B)	15	7
アカデミア/EBP 共願 (C)	2	1
アカデミア/非EBP 共願 (D)	3	1
アカデミア関与由来品 (B+C+D)	20	9
アカデミア関与由来品が占める割合 (対全米 (B+C+D)/A)	18%	7%

*アカデミア由来品：基本特許出願機関にアカデミアを含む品目

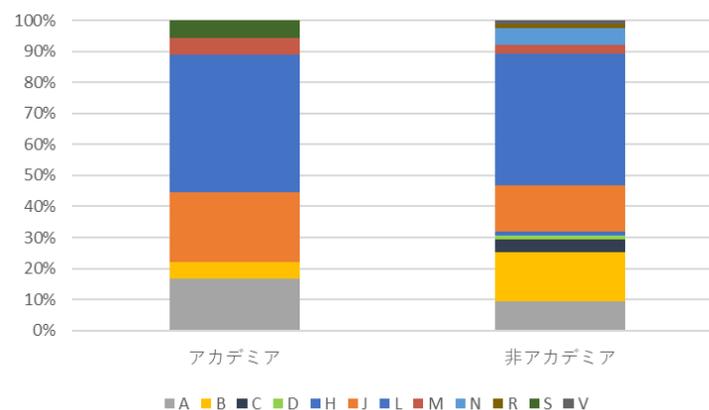
米国アカデミア由来品のバイオ/低分子別ATC分類及び非アカデミアとの比較

- アカデミア由来品において、低分子品とバイオ品では対象疾患の分布が異なっていた。
- 非アカデミア由来品とアカデミア由来品の比較では、バイオ品では分布が似ていたのに対して、低分子品は異なっていた。

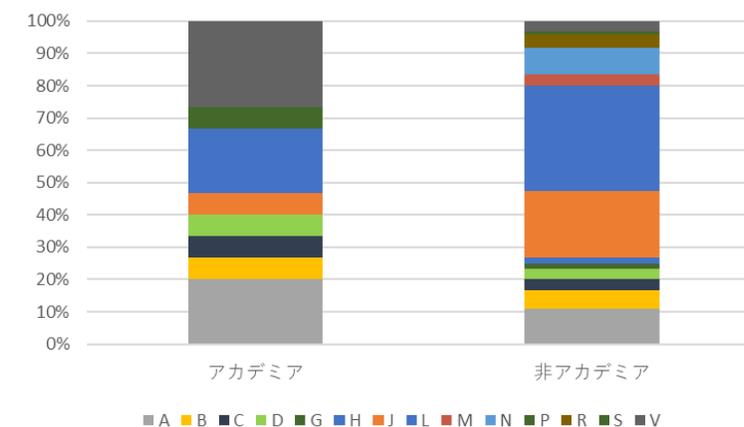
アカデミア品におけるATC分類
アカデミアバイオ品 vs. アカデミア低分子品



バイオ品におけるATC分類
アカデミアバイオ品 vs. 非アカデミアバイオ品



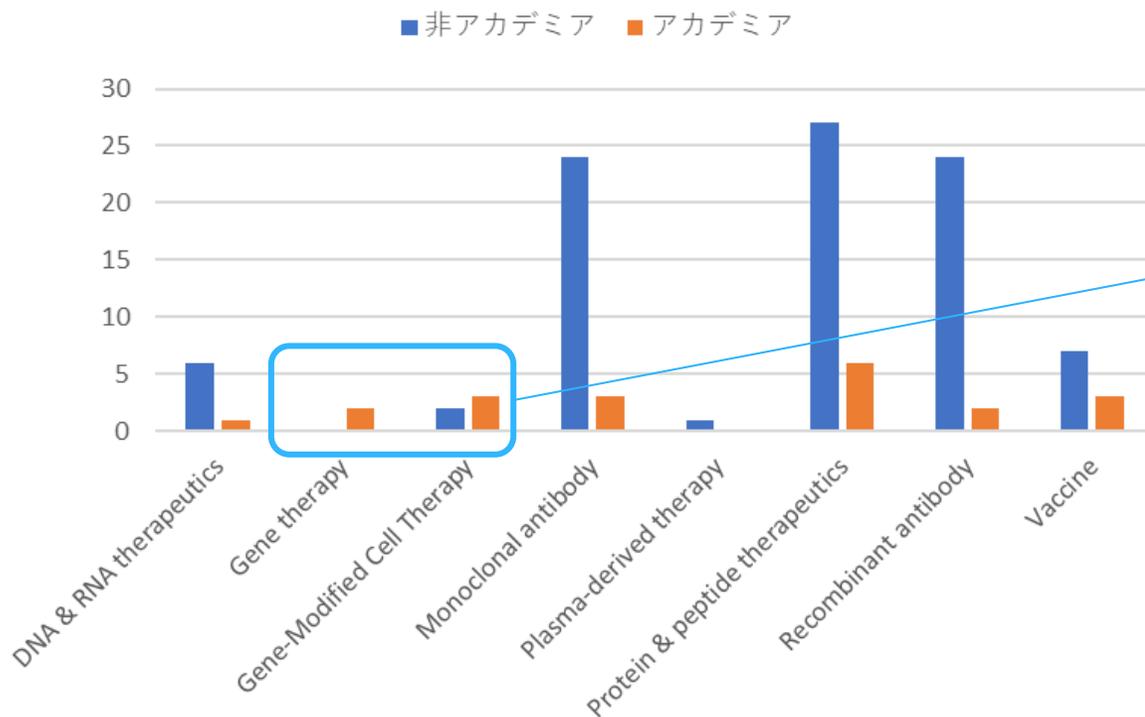
低分子品におけるATC分類
アカデミア低分子品 vs. 非アカデミア低分子品



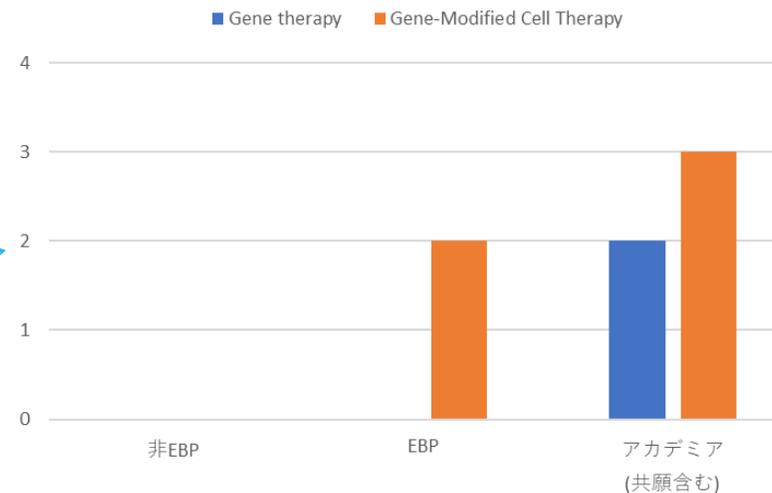
バイオ品のモダリティ別の非アカデミア/アカデミア由来品目数比較

- アカデミア由来品が半数以上を占めるモダリティは、Gene therapyとGene-Modified Cell therapyであった。
- これらのモダリティのうち、アカデミア由来品が占める割合は、7品目中5品目であった。
- 内訳はCAR-TとAAVによる遺伝子導入治療で、L領域が多数を占めていた。
- 遺伝子治療関連のような新規の細胞関連の治療法は、アカデミア由来品が多数を占めていた。

バイオ品のモダリティ別非アカデミア/アカデミア由来品目数



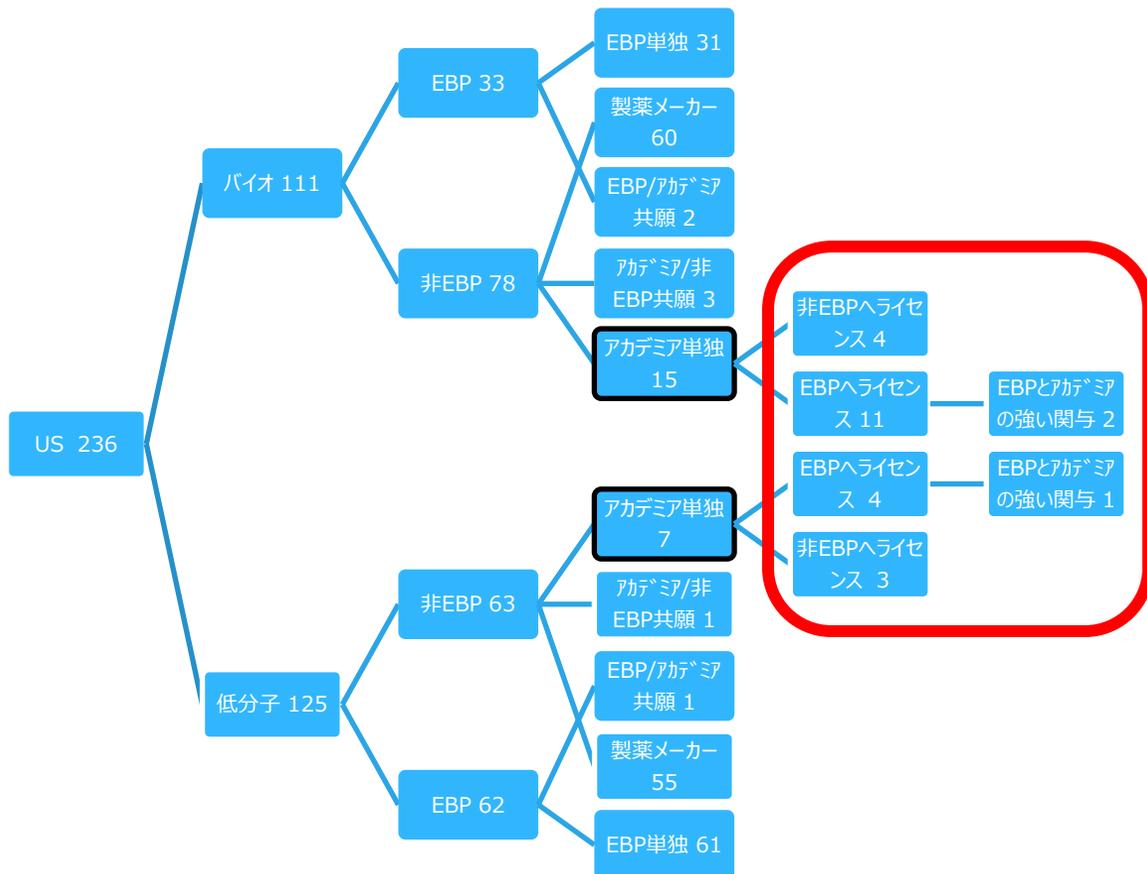
遺伝子治療関連の機関別品目数



Technology	アカデミア由来品の占める品目数	Modality	ATC分類
Gene-Modified Cell Therapy	3/5	CAR-T	L
Gene Therapy	2/2	AAVによる遺伝子導入	M, S

アカデミア単独由来品のバイオ/低分子別ライセンス先

- アカデミア単独で製品化した品目は存在せず、アカデミア由来品は承認取得までに企業と連携している。
- バイオ品ではEBPにライセンスしている品目が11と低分子品の3倍弱あり、割合でみてもバイオ品のほうがEBPへライセンスアウトする比率が高かった。
- 基本特許公開アカデミア機関と関与が深いライセンスアウト先のEBPは計3品目であった。



アカデミア単独由来品のライセンス先別品目数

	バイオ品	低分子品	
アカデミア単独	15	7	
アカデミア単独品の ライセンスアウト先	非EBP (%)	4 (27%)	3 (43%)
	EBP (%)	11 (73%)	4 (57%)
	ライセンスアウトなし	0	0
ライセンスアウト先のEBPが、 ライセンス元のアカデミアと関与	2 (13%)	1 (14%)	

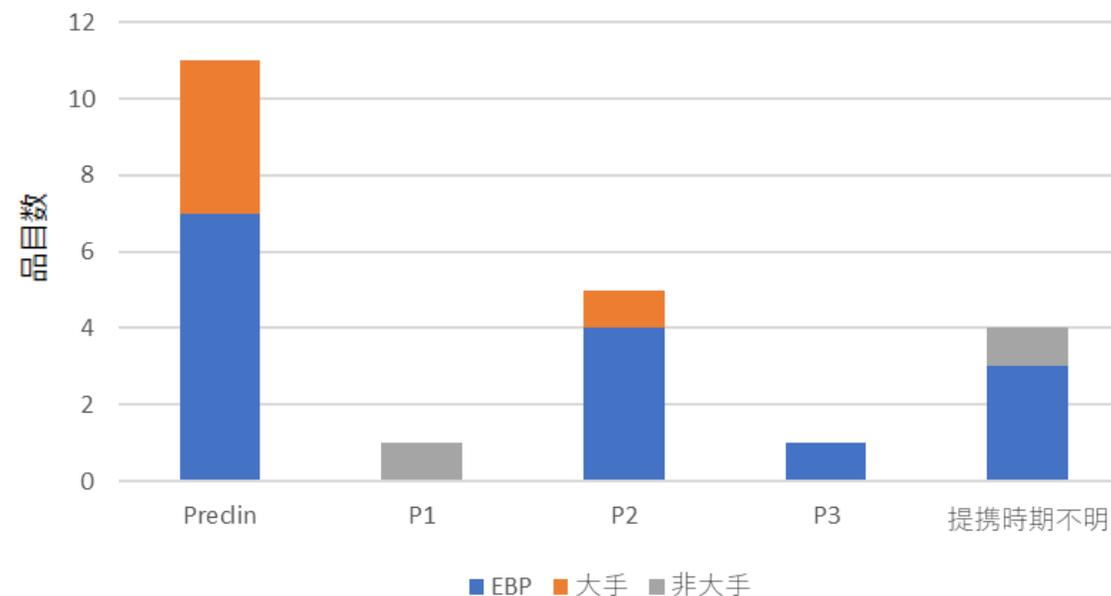
アカデミア単独由来品の企業へのライセンス時点のフェーズ、導出先

- 企業にライセンスされた時期は、非臨床のほうが多かった。
- 企業にライセンスされた品目は、EBPのほうが多かった。

アカデミア単独由来品のライセンス時点のフェーズ

	非臨床	臨床	時期不明
品目数	11	7	4

アカデミア単独由来品のフェーズ別導出先



アカデミア品を最初に取得したEBPの特徴

- アカデミア品を最初に取得したEBPは15品目（バイオ11品、低分子4品）で15社あった。このうち調査のついた14社について解析を行った。
- 創始者のバックグラウンドは製薬企業出身者は少なかった。
- バイオ品、低分子品ともに、技術的に特化したEBPの比率が低く、同じ領域を有するEBPへのライセンスが多い。

アカデミア単独由来品を取得したEBPの創始者、特徴

	創始者バックグラウンド			特徴		
	大学	製薬企業	バイオ・EBP ・VC等	領域	技術	人材
バイオ品 11品目	5/11	2/11	9/11	9/11	4/11	2/11
低分子品 3品目	1/3	0/3	2/3	3/3	0/3	0/3

複数カウントするので合計は全体数と必ずしも一致しない

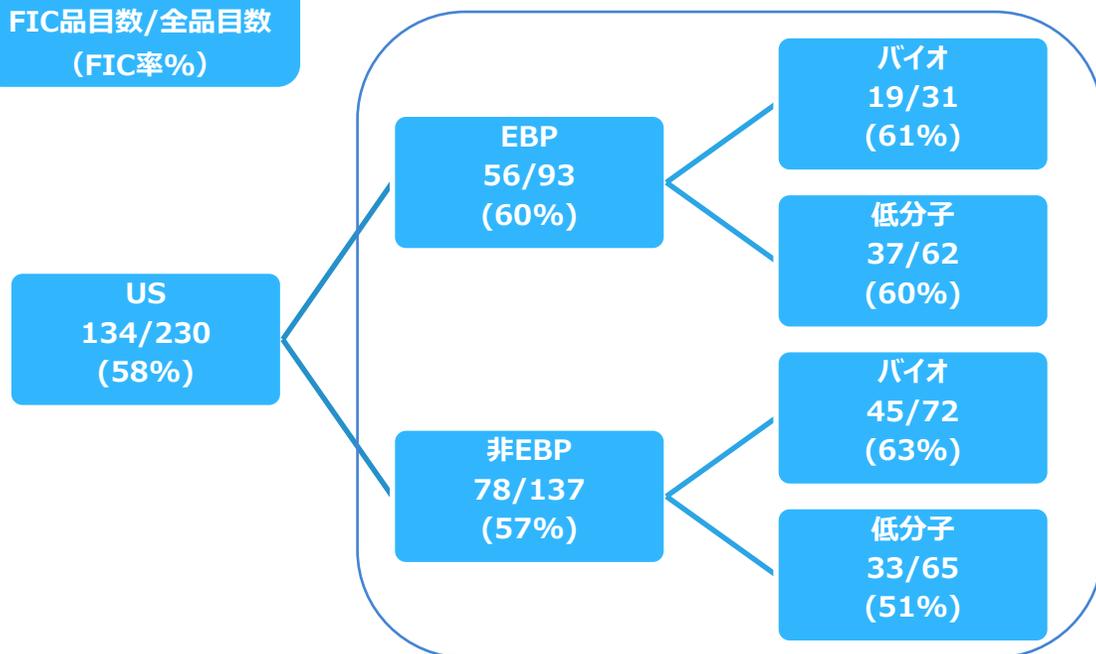
米国由来のグローバル承認品目のFirst in Class (FIC) 率

- FDAがFICとして認定した品目について、基本特許の由来機関別、モダリティ別に集計した（集計可能品目のみ）。
- 米国由来品のFIC率は、グローバル承認品全体の58%で、EBP由来品のほうがわずかに高かった。
- アカデミア品は、少ないながらも非アカデミア品よりFIC率が高く、バイオ品に限ると84%がFICとなっていた。

凡例

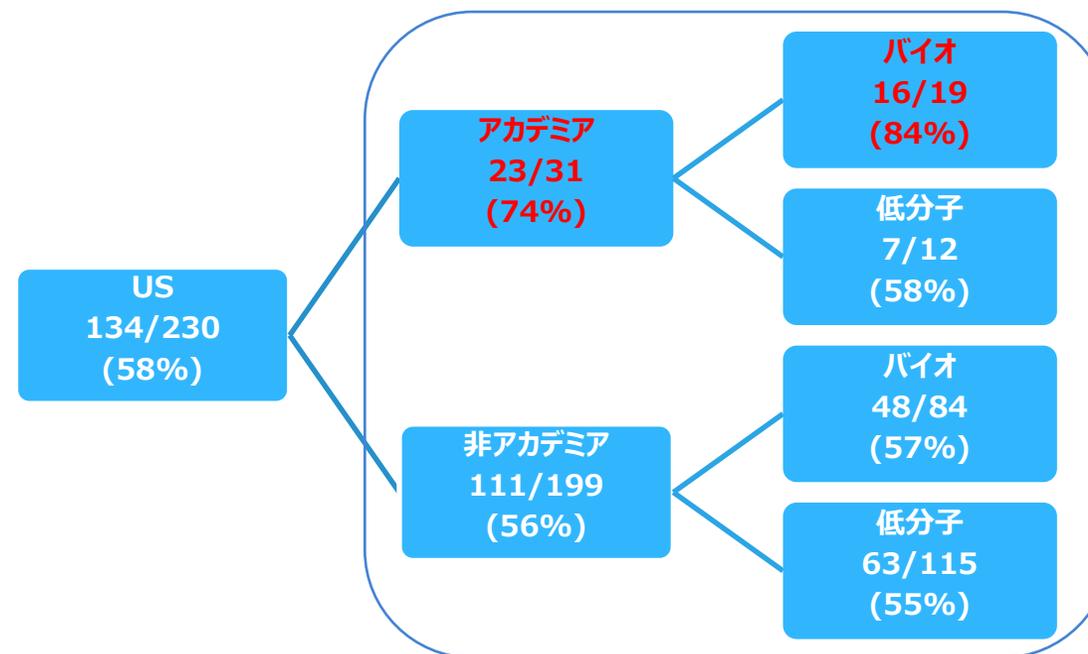
出願機関またはモダリティ
FIC品目数/全品目数
(FIC率%)

EBP/非EBP別FIC率



アカデミア*/非アカデミア別FIC率

*アカデミア由来品：基本特許出願機関にアカデミアを含む品目



3. まとめと考察

米国EBP由来品・アカデミア由来品の動向と特徴まとめ

EBP由来品

- EBP品が米国由来グローバル承認品全体に占める割合は直近5年で増加した。
- 特許公開時期別にみた場合、EBP由来品は2011年以降も増加していた。
- 特許公開時期別に見たモダリティ別特徴は、
 - バイオ品：2010年以前はリコンビナント抗体と蛋白質製剤が隆盛で、モノクローナル抗体は2011年以降の特許が多かった。New modalityの特許は多くは2011年以降に出されており、モダリティによる研究トレンドの経年変化が見られた。
 - 低分子品：大多数を占めるL分類においては、蛋白構造解析などのbreakthroughや母核構造の進展により、キナーゼ阻害剤の特許公開時期を時系列に明確な研究開発のトレンドが読み取れた。
- EBP由来のバイオ品は低分子品と比べて薬効分類の偏りが少なく（非EBPとの比較）、領域によって最適なモダリティを選択していた。
- バイオ品は非臨床段階で提携しており、その提携先はメガファーマが多かった。一方低分子品は提携時期に偏りはなかった。
- 特許出願機関の観点では、バイオ品も低分子も同様にアカデミアとの共願は少なく、EBP単独出願が大多数であった。

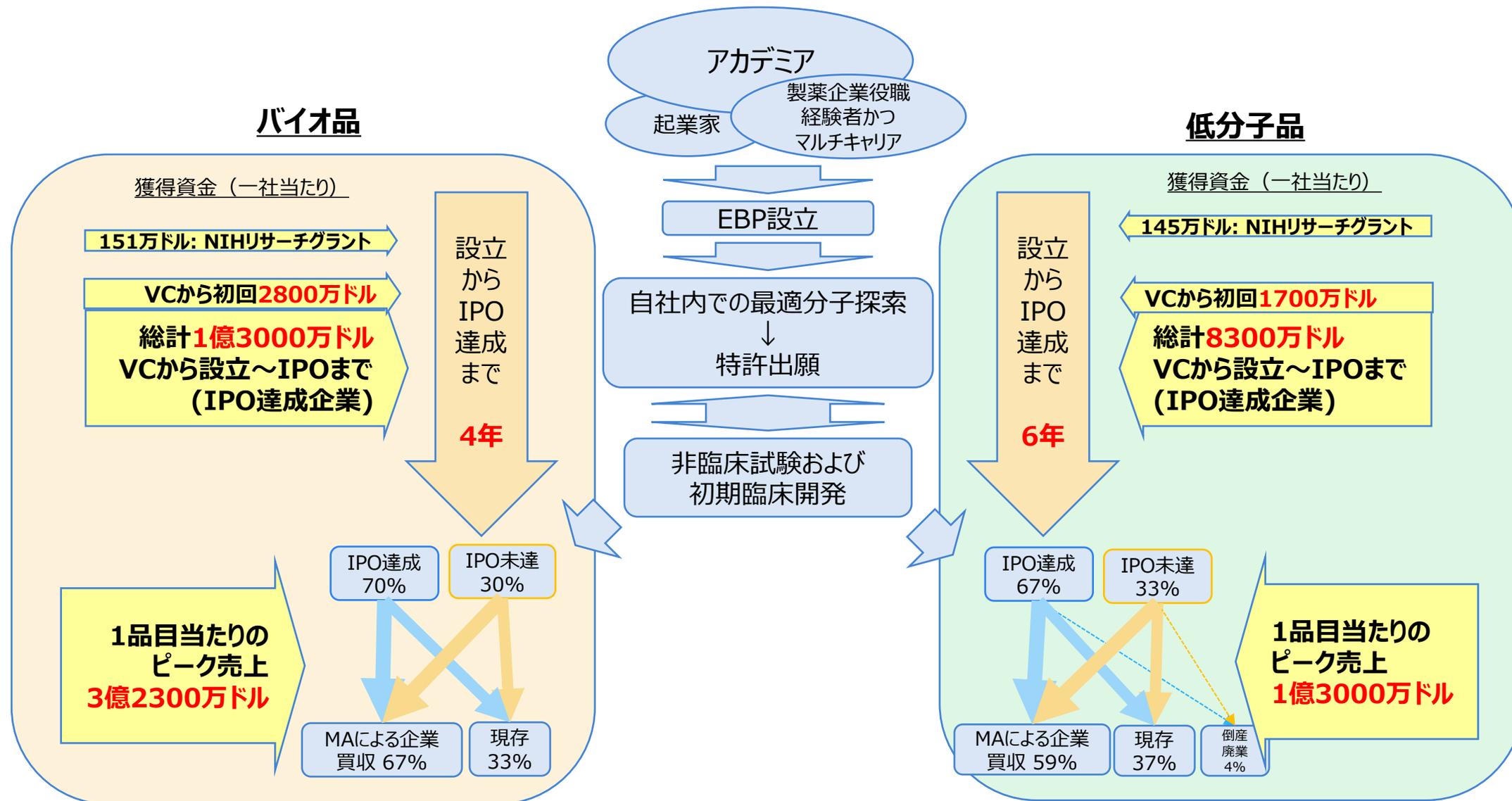
アカデミア由来品

- 米国由来グローバル承認品全体に占めるアカデミア由来品の占める割合は、12%（29/236）であった。
- アカデミア由来が占める割合、数ともに、バイオ品のほうが高かった。
- アカデミア由来のバイオ品目は、EBPに最も多くライセンス、次にメガファーマに導出していた。
- 基本特許を公開したアカデミアと関与が深いEBPへライセンスアウトした品目は計3品目であり、アカデミアで獲得した特許が関連EBPを経てグローバル承認品目になったものは多くなかった。
- 米国由来品全体に占めるFICの割合はアカデミア由来品では74%で、バイオ品に限ると84%がFICであった。

グローバル品を創出した米国EBPまとめ

	バイオ	低分子
起業	<ul style="list-style-type: none"> 創始者： <ul style="list-style-type: none"> 製薬企業役職経験者 75%、マルチキャリア 94% アカデミア由来：63% 所在地：ボストンおよびサンフランシスコ 	<ul style="list-style-type: none"> 創始者： <ul style="list-style-type: none"> 製薬企業役職経験者 93%、マルチキャリア 71% アカデミア由来：42% 所在地：ボストンおよびサンディエゴ
	<ul style="list-style-type: none"> 製薬企業経験者を含む企業：58-59% 起業人数は平均2-3名 	
領域 品目探索	<ul style="list-style-type: none"> 自社内での最適分子探索、アクセス分子探索スクリーニング、最適アクセス分子決定⇒ 特許出願 領域特化：56% 著名人材：29-30% 	
	<ul style="list-style-type: none"> 領域によって最適モダリティを選択 	<ul style="list-style-type: none"> L領域（抗腫瘍、自己免疫疾患）が42%で突出で、2010年以降も特許創出
資金調達	<ul style="list-style-type: none"> 一品目当たりのNIHリサーチグラント：1.5Mドル 	
	<ul style="list-style-type: none"> 設立から3年以内の資金調達：28Mドル 設立からIPOまでのVCによる資金調達：131Mドル IPOまでの期間：4年 	<ul style="list-style-type: none"> 設立から3年以内の資金調達：17Mドル 設立からIPOまでのVCによる資金調達：83Mドル IPOまでの期間：6年
ライセンス	<ul style="list-style-type: none"> 提携（企業買収含む）：81% 非臨床段階での提携：65% 大手との提携：44% 	<ul style="list-style-type: none"> 提携（企業買収含む）：62% 非臨床段階での提携：45% 大手との提携：32%
出口戦略	<ul style="list-style-type: none"> 67-70%はIPO達成、一部IPO前に買収 	
	<ul style="list-style-type: none"> 67%はM&Aにより買収 	<ul style="list-style-type: none"> 59%はM&Aにより買収
売り上げ	<ul style="list-style-type: none"> 1品目当たりの米国で売上(ピークセール)：298Mドル 	<ul style="list-style-type: none"> 1品目当たりの米国で売上(ピークセール)：130Mドル

グローバル品創出米国EBPのライフステージ



考察

アカデミアの寄与	<ul style="list-style-type: none"> 新たなターゲット、メカニズム、プラットフォームは創薬シーズ基盤がアカデミアの研究から生まれることは論を待たず、ドラッグディスカバリーの出発点におけるアカデミアの寄与は大きいと考えられる。その一方、今回のEBPが創出した製品の基本特許の調査からはその直接的な寄与を確認できなかった。大学の研究成果は新しいターゲット・メカニズム・プラットフォームなど創薬シーズの先行技術基盤に関連するものが多いため、医薬品ビジネスの観点では排他性などにおいて不十分である可能性が考えられる。 米国の大学は、ライセンス契約、スタートアップインキュベーションプログラム、ベンチャーキャピタル企業との提携を通じて、研究を積極的に商業化しており、その知的財産は創薬センターや技術移転オフィスを通じて、EBPにライセンス供与される。しかしながら大学と企業間のライセンス契約は初期段階の知的財産に集中しており、製品を保護するのに十分な知財を大学が有してわけではなく、企業内で製品化に資するものに磨かれる。今回の調査で製品自身の基本特許の多くがアカデミアではなくEBPから出ているのはそのため、製品の基本特許から見た場合にアカデミアの寄与を反映しきれていない可能性がある。しかしながらアカデミアの技術の特許が基本特許としてそのまま製品化されれば、FICとして画期的新薬となり、細胞治療や遺伝子治療においてはそのことが垣間見える。
EBPの寄与	<ul style="list-style-type: none"> 低分子品に比べてバイオ品におけるEBP比率が低いことに関して、大手製薬がバイオ品研究に特化した優れた技術プラットフォームを持つEBPに対して提携あるいは買収している可能性がある。たとえば抗体においては、ターゲットや配列の枯渇などによる特許取得の困難さから、ADCやマルチスペシフィック抗体など高機能化へのシフトが起きたが、その分野での特異的な技術を持ったEBPがそのまま買収されている可能性がある。プラットフォームごと買収されたのちに、その技術を応用して製品を生み出した場合は、買収した企業が基本特許出願機関となり、技術を有していた被買収企業が表には出てこない可能性がある。 しかしながら近年EBPが自力で製品にまで仕立て上げる事例が増加していることから、バイオ品も低分子品も年度別特許公開時期では経年でEBP品比率が上昇している。また別途行われた開発品目パイプライン分析などからもEBP由来品が増加していることなどを鑑みるに、今後EBP由来のグローバルバイオ品、特に新規モダリティのEBP由来グローバル品数が増えていく可能性はあろう。
国内EBP育成	<ul style="list-style-type: none"> 今回の調査から、米国EBPでは各分野の専門性を有した人材（大学由来の研究者、製薬企業出身者、起業家、さらにはVC人材など）が集結し、それぞれが自身の担う役割を全うすることで、VCからの継続的な投資を呼び込み、そしてEBP自身で開発候補品に資する化合物を取得することで、次のステージに必要な資金獲得に備えるというエコシステムの好循環により、ドラッグディスカバリーがなされていることが考えられた。 その中でも製薬メーカー出身者におけるマネジメント経験は大きな貢献をしており、アカデミアの知見を活かすべく社会実装のために必要な製薬企業経験が活かせる人材の積極的な移転は、国内EBP活性化の一つの手段であると考えられる。 今回の調査対象の米国EBPが資金提供を受けた時期は今から10-15年程度前であるにもかかわらず、VCからの投資額は現在の国内EBPに対する投資よりもはるかに大きい。現在日本でもEBPに対する投資額は増えてきてはいるが、それ以上に米国でも増加しており、その差は縮まっていない。トータルではかなわないが一社あたりの公的資金の助成額については米国と比肩できるため、一つでも成功事例を増やすことで民間からの投資額がふえ国内創薬エコシステムが回りだすことを期待したい。
モダリティ	<ul style="list-style-type: none"> グローバル承認品の半数は低分子であり、今なお世界では低分子品の開発は衰えてはいない。日本の製薬メーカーはかつて低分子創薬に長けており、そのノウハウの蓄積は一朝一夕に育ったものではない。バイオ品は薬効や毒性が予測しやすく、開発候補品が取れると低分子より速くすすむ可能性がある。その一方、特に初期の製造コストは高く、細胞などではその維持管理のハードルがかなり高い。 iPS関連創薬は日本先行モダリティとして国内EBPを中心に注力しているが、それらに加えて、従来強かった低分子技術を現代の創薬手法にマッチさせることで、国内製薬メーカーがメガファーマの後追いではない特異的な領域で存在感を示すことができるのではないかと期待する。

作成メンバー

初版作成 2025年7月18日

主任研究員 森本 潔

同 吉浦 知絵

同 金井 大輔

Appendix

米国EBP由来バイオ品承認時の薬事優遇措置の状況

- Breakthrough Therapy Designation (BTD) 取得率、Orphan Drug Designation (ODD) 取得率ともにEBP品のほうが高かった。
- 特に、DNA&RNA, Monoclonal antibodyではBTD取得率が顕著に高かったことから、EBPはこれらのモダリティでOrphanドラッグの画期的新薬創製に邁進している可能性が考えられた。

米国BTD

	全体数	BT数	BT率
EBP	33	10	30%
非EBP	78	19	24%
全体	111	29	26%

米国ODD

	全体数	Orphan数	Orphan率
EBP	33	17	52%
非EBP	78	27	35%
全体	111	44	40%

EBP品でBT率が平均より高い領域

BT率	A	L
EBP	57%	44%
非EBP	43%	34%

EBP品でOrphan率が平均より高い領域

Orphan率	A	L	N
EBP	86%	44%	50%
非EBP	71%	46%	33%

EBP品でBT率が平均より高いモダリティ

BT率	DNA&RNA	Monoclonal antibody
EBP	60%	67%
非EBP	0%	38%

EBP品でOrphan率が平均より高いモダリティ

Orphan率	DNA&RNA	Monoclonal antibody	Recombinant antibody	Protein & peptide
EBP	86%	44%	50%	62%
非EBP	71%	46%	33%	40%

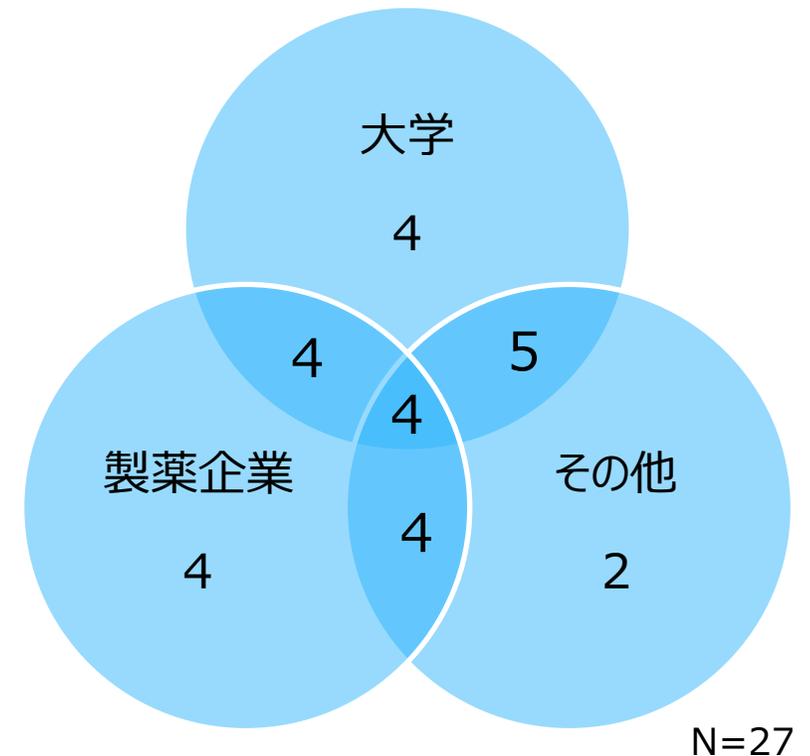
Breakthrough Therapy Designation（画期的新薬指定：BTD）：米国食品医薬品局（FDA）により、重篤な疾患や生命を脅かす疾患に対する新規治療薬の開発・審査期間を短縮することを目的として導入された制度
Orphan Drug Designation（希少疾病用医薬品指定：ODD）：米国内の患者数が20万人未満の希少疾患または、患者数が20万人以上の場合でも、その治療薬の開発や販売にかかる費用の回収が困難と考えられる場合にFDAによる指定の対象となる制度。オーファンドラッグ指定により、FDAからのプロトコール相談などの開発優遇措置、申請手数料免除、排他的先発販売権付与、税制上の優遇措置等を受けることが可能

米国EBPにおけるバイオ創出企業 創始者バックグラウンド

- そのバックグラウンドは、アカデミア出身者が63%、製薬企業関連出身者が59%、その他が56%。（重複カウント）
- 大学出身者の役割が大きいが、それ以外の起業家の果たす役割もある。

	全体	調査可能	創始者バックグラウンド		
			大学	製薬企業	その他、 (起業家 バイオ企業)
企業数	27	27	17	16	15
割合			63%	59%	56%

どちらにも該当する、あるいは複数のFounderがいて役割が違う場合もカウントするので、合計は100%を超える
Founderとして名を連ねているメンバーのみカウント（入っていない場合は重要な役割を果たしていたとしても未カウント）



バイオ創出米国EBP 製薬企業出身者のバックグラウンド

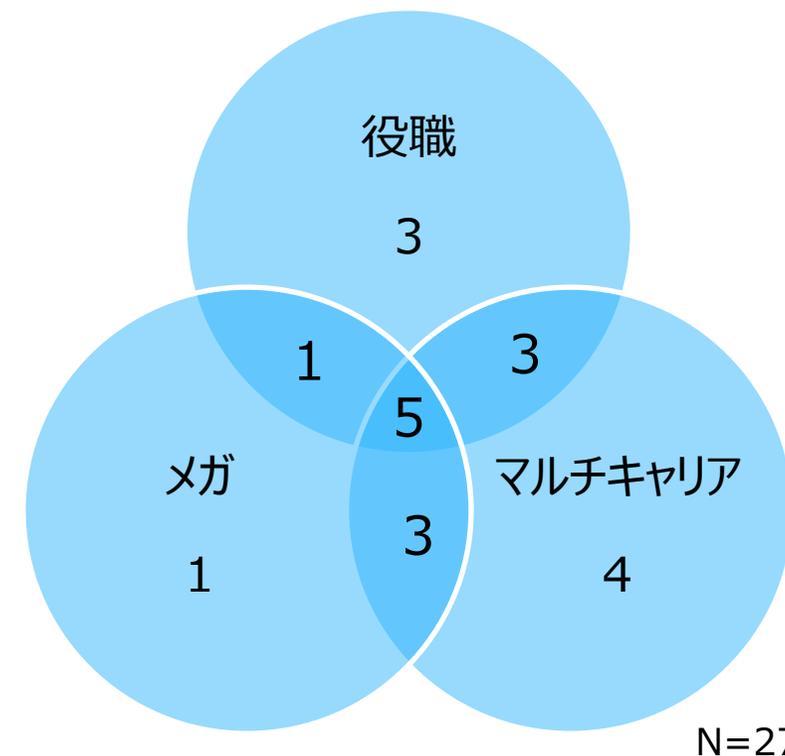
- 製薬企業出身者のうち75%は何らかの形で前職で役職（管理職やリーダー以上）を経験し、62%は、メガファーマでの役職経験がありマルチキャリア*であった。
- 製薬企業でのマネジメント経験が立ち上げとその後の成功に寄与している可能性が考えられた。

*マルチキャリア：当該企業の起業前に複数の機関（製薬企業、アカデミア）に所属経験あり

**スピナウト：創始者が前所属企業から創薬ターゲットをもって独立起業

	全体	起業前に製薬企業で役職にいたメンバーの関与	メガファーマに在籍経験あり	複数組織に在籍（マルチキャリア）
企業数	16	12	10	15
割合		75%	62%	94%

どちらにも該当する、あるいは複数の役割が違う場合もカウントするので、合計は100%を超える



バイオ創出米国EBP 技術的な特徴

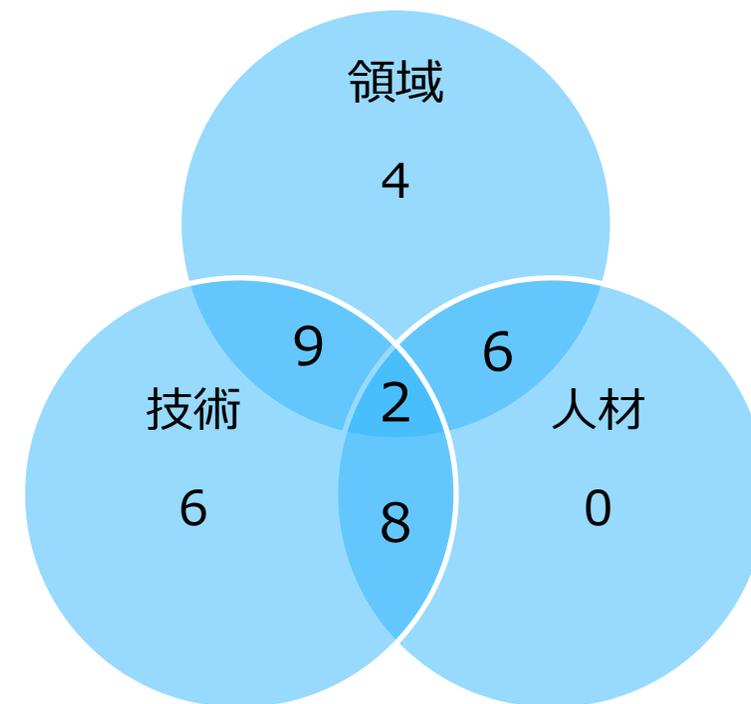
- 技術を所有している企業が85%以上であった。
- 技術や領域単独というよりは、技術と領域、あるいは技術と人材、を所有している企業が成功の秘訣か

特化領域（または臓器）：一つの疾患領域（または臓器）にターゲットを絞って薬剤研究する企業

特化技術：ターゲットや化合物探索において他よりも秀でた技術を有する企業

特筆人材：特定領域において著名な人材（賞受賞者や第一人者）を有する企業

企業特徴	領域 (疾患または臓器)	技術	特筆人材
企業数	15	23	8
割合	56%	85%	30%



N=27

初期資金調達

- NIH grantからの合計調達額は1社あたり151万ドル（中央値、約1.7億円）であった。
- 設立後3年以内のVCからの1社あたりの最初の調達資金は、2800万ドル（中央値）であった。

1990-2024の平均レート：1ドル=113円で概算
平均、中央値であり、当時の社会的な経済状況は加味されていないことに留意

NIH Grantからの資金調達

平均 \$M	中央値 \$M
3.96	1.51

調査対象
企業12社

設立後最初にVCからの資金調達（3年以内）

平均 \$M	中央値 \$M
40.6	28.0

	投資形態 (Series)				
	Seed	A	B	C	未記載
企業数	1	7	3	0	1

調査対象
企業12社

調査方法：企業設立から3年以内に最初にVCから調達した資金と、投資形態を Evaluate Pharma®に情報のある企業11社について調査。
投資形態：Evaluate Pharma®の定義に従った。Seed: 100万ドル以下の非常に初期段階での投資、Series: 資金調達段階分類

設立からIPOまでのVCからの資金調達

- IPO達成企業 19/27
- IPO達成前/後に買収 8/10
- 設立からIPOまでの期間は4年（中央値）であった。
- 設立からIPOまでの1社あたりの支援額は1億3100万ドル（中央値）であった。

1990-2024の平均レート：1ドル=113円で概算
平均、中央値であり、当時の社会的な経済状況は加味されていないことに留意

	設立からIPOまでの期間 (年)		1社あたりの支援額 (\$M)	
	平均	中央値	平均	中央値
	7.0	4.0	295	131
調査数	19		12	

米国由来バイオ品目における売上比較

- 調査対象期間（2013年から2023年）の米国由来バイオ品目のピーク年売上高（中央値）は、
- EBP品で3.23億ドル、非EBP品で3.38億ドルであった。
 - EBP品1品目あたりの売上は非EBP品とあまり変わらなかった（中央値ベース）。

1990-2024の平均レート：1ドル=113円で概算
平均、中央値であり、当時の社会的な経済状況は加味されていないことに留意

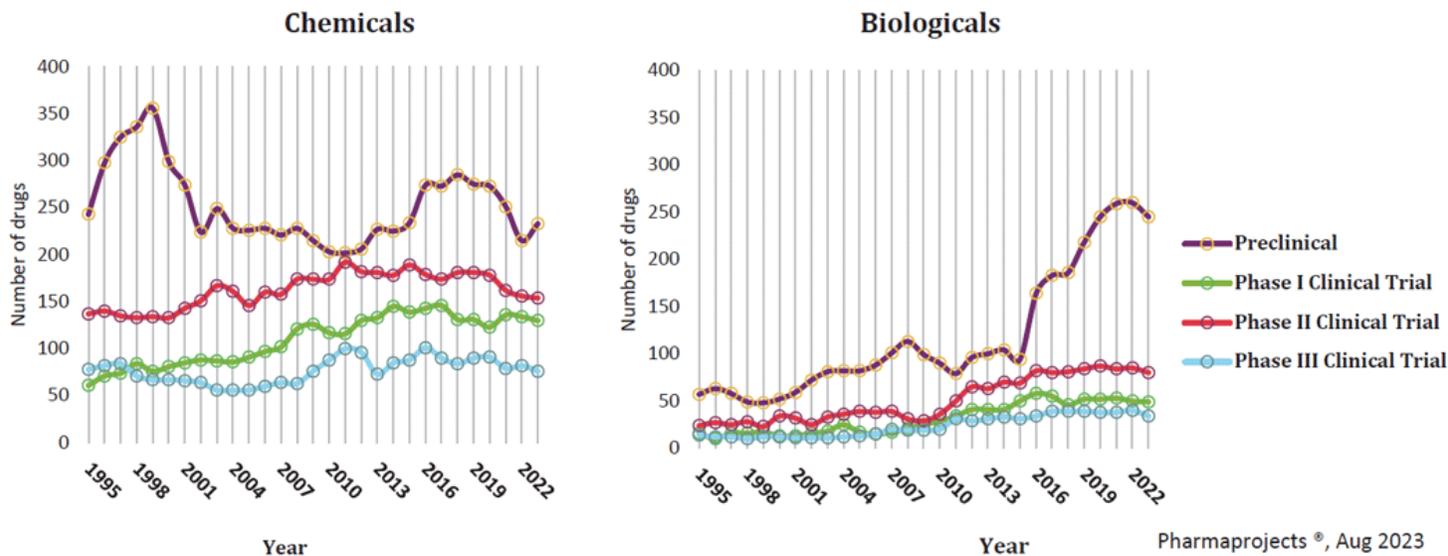
	調査品目数	中央値
		EBP
非EBP	35	338

日本由来品の創薬トレンド

- 低分子品に関して、研究数は2000年前後で急減し、その後2016年以降グローバル承認品はその前の1/3以下となった。
- バイオ品に関して、2015年以降研究数増加したが、多様なモダリティのグローバル品の創出までに至っていない。
- 日本のEBP由来のグローバル承認品目はゼロであり、米国のようにEBPの存在感が示せていない。

日本HQカンパニーの低分子研究開発品目数

図7 日本 HQ カンパニー研究開発品目数



日本由来承認品数とその割合

図3 日本創出のモダリティ年次推移



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Cortellis Competitive Intelligence、明日の新薬（テクノミック制作）、Evaluate Pharma®（2024年5月時点）、企業のホームページ、Pitchbook、LinkedInなどをもとに医薬産業政策研究所にて作成
出典：医薬産業政策研究所「日米欧NME 承認品目の特許創出機関の国籍 - 日米欧における新規有効成分含有医薬品の承認品目での比較 -」政策研
ニュース No.70（2023年11月）

参考1

EBPのExitにおける日米比較

- 米国EBPのうち約14%は廃業していた（調査期間:2000-2022累積）。
- 日本EBPは、米国EBPに比べて起業数、廃業数ともに3-4%程度しかなかった。

表 5-2 創業ベンチャーの Exit における日米比較

	米国	日本	米国/日本
累積起業数	6282	256	24.5
累積上場企業数	847	31	27.3
累積被買収件数	902	21	43.0
累積廃業数	883	25	35.3
2019年医薬品等製造業研究開発費（100万円）	9240260	1339153	6.9

注1：Evaluate Pharma における組織分類で、「Specialty (Pharma)」ならびに「Biotechnology」に区分される組織を創業ベンチャーとして注出

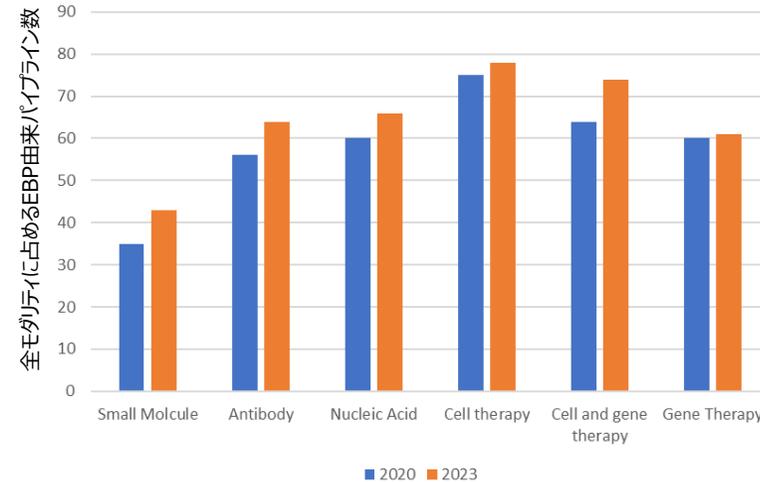
注2：2000～2022年の累積データ

出所：Evaluate Pharma® April 2023, © Evaluate Ltd (累積被買収件数、累積IPO数、累積起業数、累積廃業数)、文部科学省 科学技術・学術政策研究所、科学技術指標 2023、調査資料-328、2023年8月（2019年医薬品等製造業研究開発費）

出典：医薬産業政策研究所 リサーチペーパー No.81（2023年10月）

開発品目のOriginator属性

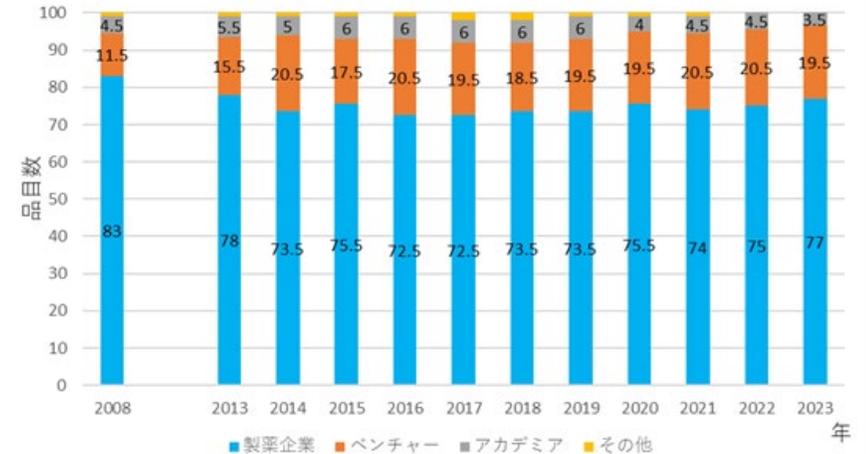
- いずれのモダリティにおいても過去3年間でその構成比はさらに増加していた。
- 新規モダリティでは特にアカデミアやベンチャーなどが創製に重要な役割を果たしているおり、創薬シーズを生み出す川上の機能がバイオベンチャー等へと移行しつつある傾向は一層高まりつつあると考えられた。



出典：医薬産業政策研究所 リサーチペーパー No.77（2020年5月）、No.81（2023年10月）より改変

売上上位100品目におけるの出願企業分類

- 2023年時点でベンチャー由来品は製薬企業由来品に比べて売上上位品目はそれほど増えていなかった。
- 売上高上位品目の担い手としての「ベンチャー」起源医薬品割合と、世界の医薬品開発の担い手としてのEmerging Biopharma (EBP) 比率に相違があることがわかっていたが、売り上げに関してその傾向は続いている。



出典：医薬産業政策研究所 ニュース No.74（2024年3月）

参考2：日米投資額比較

スタートアップ投資の規模

スタートアップ

- 日本のVC投資額の対GDP比は、2016年の0.03%から2022年では0.06%に伸びているものの、米国やカナダ、英国には劣後。
- また、ステージ別にみると、日本においては全体の7割の資金がアーリーステージのスタートアップに供給され、スタートアップが大きく成長を遂げるレイトーステージのスタートアップには2割弱の資金が提供されている。

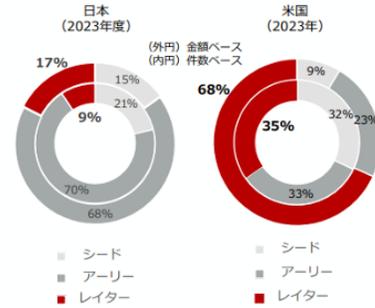
ベンチャーキャピタル投資額（対GDP比）の推移

	2016年	2022年
米国	0.40%	0.47%
カナダ	0.18%	0.22%
英国	0.08%	0.12%
フランス	0.06%	0.06%
ドイツ	0.03%	0.06%
日本	0.03%	0.06%
イタリア	0.01%	0.03%

注) 日本以外の各国はそれぞれ2017年、2023年の数値。

出典：OECD(Data explorer)「Venture capital investments (market statistics)」
(<https://data-explorer.oecd.org/> 2025/4/21アクセス)

ステージ別スタートアップへのVCからの資金供給*

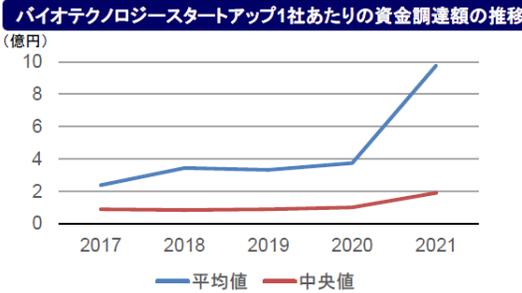
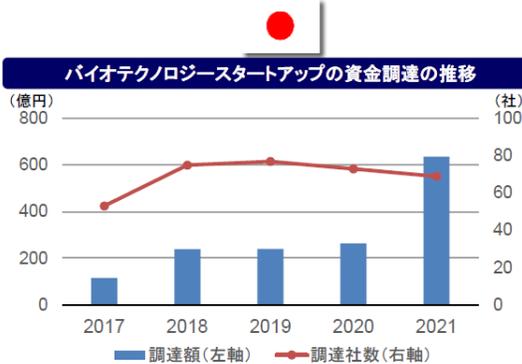


株式会社ユーザベース「Japan Startup Finance 2024 上半期」、Q3 2024 Pitchbook-NVCA Venture Monitor, NVCA 2024 Yearbook、一般財団法人ベンチャー・エンタープライズセンター「ベンチャー・白書2024」を基に作成。
*日本における「アーリー」には出所の分類における「エクスピション」を含む。米国における「レイト」には出所の分類のうち「ベンチャー・ロール」を含む。日米共に早期VCによる海外スタートアップへの投資額は含まない。日本の投資件数は1,285件、投資金額は1,730億円、米国の投資件数は13,586件、投資金額は21,706億円。

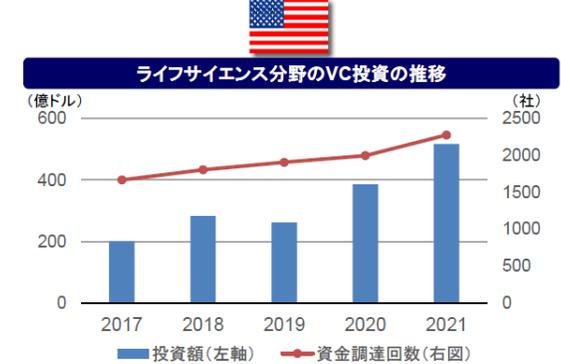
出典：経済産業省、2025「我が国のイノベーション・エコシステムの現状と課題」（第5回 産業構造審議会 イノベーション・環境分科会 イノベーション小委員会 資料3）を一部加工

日本と米国のVC投資額の推移

日本と米国では、VC投資の総額はもとより、創業スタートアップ1社あたりの資金調達額に大きな差がある。



注) 2021年にバイオ新素材分野で144億円と97億円を調達した企業が各1社あった。
出所：INITIAL Japan Startup Finance 2021



出所：NVCA 2022 Yearbook

参考3 : Expert Opinions意見集約

米国創薬における役割	
米国創薬におけるアカデミアの役割とは？	<ul style="list-style-type: none"> 米国の創薬スタートアップ企業の大半は、大学の研究から生まれた新たなターゲット、メカニズム、プラットフォームといった学術的技術シーズを基盤。 大学はイノベーションハブとして、新しい生物学的知見やハイリスク・ハイリターンの研究の主な情報源であり、それらが画期的な治療法につながる。
米国創薬におけるEBPの役割とは？	<ul style="list-style-type: none"> 大学からの成果は通常、製薬会社が直接追求するには時期尚早またはリスクが大きすぎるため、スタートアップ企業にはトランスレーショナルギャップを埋める機会を有する。 大手製薬会社は、研究開発費とリスクの増大により、初期段階の研究をスタートアップ企業や学術機関に外注。
アカデミア発特許が製品特許と一致しない理由は？	<ul style="list-style-type: none"> 背後に学術研究のインスピレーションがあったとしても、投資家や製薬パートナーは資金調達や提携を進めるために知的財産確保に重点を置くため、アカデミア由来特許の所有権は通常早期に放棄。 学術機関からスピントアウトしたEBPは、所有権の明確化を強化するために、企業体の下でシーズを医薬品候補に仕上げ、その後に特許を再譲渡または再出願。 学術界だけが保有する特許の独占権は、製薬業界にとってしばしば不十分。 学術機関が開発した技術は、基礎研究に近く、まだ事業化の初期段階にある場合が多い。 学界は、価値を生み出す重要なステップの前に、より狭い範囲の請求を行ったり、知的財産を付与したりする傾向。 学術機関の特許 = 研究ツールであり、商業的独占ではない。 防御可能な物質特許への道筋には、医薬品化学、製剤開発、前臨床検証などが必要であり、これらは学術機関の範囲、資金、商業的焦点を超えた活動