

**医薬品開発の期間と費用**  
**－アンケートによる実態調査－**

八木 崇  
(医薬産業政策研究所 元主任研究員)

大久保 昌美  
(医薬産業政策研究所 元研究員)

医薬産業政策研究所  
リサーチペーパー・シリーズ

**No.59**  
(2013年7月)

本リサーチペーパーは研究上の討論のために配布するものであり、著者の承諾なしに引用、複写することを禁ずる。

本リサーチペーパーに記された意見や考えは著者の個人的なものであり、日本製薬工業協会及び医薬産業政策研究所の公式な見解ではない。

本リサーチペーパーは、政策研ニュース No.29 (2010年1月) に掲載の「医薬品開発の期間と費用 －アンケートによる実態調査－」の詳細版であり、使用したデータは同一である。

内容照会先：

日本製薬工業協会 医薬産業政策研究所  
〒103-0023 東京都中央区日本橋本町 3-4-1 トリイ日本橋ビル 5F  
TEL : 03-5200-2681 FAX : 03-5200-2684  
URL : <http://www.jpma.or.jp/opir/>

## 謝辞

本研究に貴重なデータを提供していただいた企業に謝意を表します。また、本研究の実施および報告書作成にあたり、東京大学大学院薬学系研究科 医薬品評価学講座 准教授の小野俊介先生に多大なるご支援を頂戴したことに深謝致します。また、貴重な助言をいただいた医薬産業政策研究所のメンバーに感謝致します。

## 要約

2009年に新たに、製薬協加盟の研究開発型製薬企業が2000～2008年の期間に非臨床試験及び臨床試験を実施した新有効成分含有医薬品開発のためのプロジェクトを対象としたアンケート調査を行った。本稿では、内資系の研究開発型製薬企業が、2000～2008年の期間に非臨床試験及び臨床試験を実施した新有効成分含有医薬品開発のためのプロジェクトを対象としたアンケート調査に基づき、医薬品開発の成功確率や期間及び開発コストを整理した。

### 【調査対象プロジェクト】

アンケート調査票を送付した調査対象内資系企業38社中27社(71.1%)よりアンケート調査票を回収し、計471プロジェクト(PJ)を評価対象とした。

成分種別で見ると、低分子医薬品が471PJ中427PJと全体の9割近くを占め、生物製品は30PJ(6.4%)であった。国内・海外開発の開発地域別にみても、その構成はほぼ同様であった。

対象疾病別では、「消化器・代謝(糖尿病含む)疾患」が121PJ(18.0%)、「悪性腫瘍(癌)」が90PJ(13.4%)、「精神神経系疾患」が81PJ(12.1%)の順に多く、開発地域別にみても疾病構成に大きな差はみられなかった。

希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品は、471PJ中8PJ(1.7%)であった。

オリジン別にみると、自社品目が317PJと全体の7割近くを占めていた。開発地域に分けてみると、国内開発300PJのうち自社品目は181PJと6割であったが、海外開発プロジェクトでは、169PJ中自社品目が134PJと8割近くを占めていた。内資系企業では、海外に進出する場合、自社品目の開発を進めていく傾向が強いと考えられた。

### 【国内開発の現状】

#### <成功確率>

前臨床試験から承認に至る成功確率は、自社品目で0.18に対し、導入品目で0.66であった。自社品目に比べ導入品目の成功確率が高かったが、この要因として導入時の開発ステージがフェーズⅡ以降の比較的ステージが進んだものが全体の約4割と高い割合を占めていることが挙げられる。

売上高が2,000億円以上の企業と2,000億円未満の企業で分けた企業規模別の集計では、前臨床から承認に至る成功確率は、自社品目の比較においては、2,000億円以上の企業で0.17、2,000億円未満の企業で0.18とほぼ同様であったが、導入品目でみると、0.58に対し0.74と、2,000億円未満の企業が高い結果であった。

プロジェクトの実施時期別に 2000～2004 年と 2005～2008 年に分けてみると、自社品目及び導入品目のいずれにおいても成功確率に大きな変化はみられない。しかしながら、自社品目においてステージ別の成功確率をみると、前臨床からフェーズⅢに至る確率について、前臨床から順に 0.78 から 0.83、0.70 から 0.76、0.34 から 0.43 へといずれのステージにおいても上昇する一方、フェーズⅢから申請に至る確率は 0.86 から 0.67 へ低下していた。

申請時の海外データ添付の有無別で成功確率をみると、自社品目及び導入品目のいずれにおいても、添付有の方が成功確率が高かった。

#### <開発期間>

前臨床試験から承認までの各ステージに要した期間（中央値）の合計は、自社品目で 110.0 ヶ月（9.2 年）、導入品目で 112.5 ヶ月（9.4 年）であり、ほとんど差はみられなかった。ただし、フェーズⅠからフェーズⅢの臨床開発の期間でみると、自社品目が 55.0 ヶ月（4.6 年）と導入品目に比して短く、特にフェーズⅡの期間は、導入品目に比べて 10.0 ヶ月短かった。

#### <開発コスト及び被験者数>

国内開発についてみると、前臨床試験から承認まで至った上市に成功した場合の開発コストの合計は、自社品目の 88 億円に対し導入品目では 51 億円と自社品目が 37 億円高い結果であったが、この違いの主な要因として非臨床試験のコストが挙げられる。非臨床試験を除いたフェーズⅠからフェーズⅢの合計で比較した場合、自社品目の 55 億円に対し導入品目では 37 億円と、その差は 18 億円であった。

被験者数については、自社品目の 1,191 名に対し、導入品目では 883 名と自社品目の約 7 割であった。

1 新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト 10%の場合、自社品目で 484 億円であり、導入品目の 107 億円の 4.5 倍であった。

### 【海外開発の現状と国内開発との比較】

#### <成功確率>

海外における成功確率を自社品目と導入品目の比較でみると、前臨床試験から承認に至る成功確率は、自社品目で 0.10 に対し、導入品目で 0.52 と導入品目の方が成功確率が高かった。これをステージ別にみても、いずれも自社品目の方が低く、国内開発と同様の結果であった。

海外開発の成功確率を国内開発との比較でみると、前臨床試験から承認に至る成功確率は、国内開発の 0.18 に対し海外開発では 0.10 と海外開発の成功確率が低い結果であった。

#### <開発期間>

自社品目の国内開発と海外開発の開発期間を比較すると、海外開発は146.5ヶ月（12.2年）と、国内開発の110.0ヶ月（9.2年）に比べて3年長かった。開発ステージ別にみても「申請－承認」を除き、すべてのステージにおいて海外開発の方が長くなっていた。

#### <開発コスト及び被験者数>

フェーズⅠからフェーズⅢの国内開発と海外開発の比較において、上市に成功した場合の海外開発コストは、国内開発（55億円）の3.8倍の206億円であった。被験者をみると、海外開発は国内開発の1,191名の3.8倍の4,569名であった。

国内開発との比較でみた海外開発の被験者数は、開発コストの場合と同じく3.8倍の4,569名であった。特にフェーズⅢの被験者数の差が大きく、海外開発（3,569名）は国内開発（888名）の4倍であった。

1新薬を上市するために必要な開発コストは、国内開発の484億円に比べて海外開発は1,764億円と高額である。

### 【先行研究との国内開発及び海外開発の比較】

#### <成功確率>

国内開発の比較において、前臨床試験から承認に至る成功確率は0.18で、先行研究（前回調査：山田 2001）の0.13に比べて高い。ただし、フェーズⅠから承認に至る成功確率は0.22で同じであった。開発品目をみると、海外開発先行プロジェクトの割合が高く、この影響を考慮すると、成功確率は実質低下しているものと推察される。

海外開発について、先行研究のPaulらの結果との比較でみると、前臨床から承認に至る成功確率は、Paulらの0.08に対し本調査では0.10、同様にフェーズⅠから承認に至る成功確率をみると、0.12に対し0.11とほぼ同様の結果となっている。前臨床からフェーズⅠに至る成功確率は、Paulらの0.69に対し本調査では0.95と高い結果となっている。これは、本調査の前臨床試験を毒性試験等のGLP試験と定義したため、フェーズⅠへの成功確率が高いものを対象としたことに起因すると考えられる。フェーズⅠ以降をみると、フェーズⅠからフェーズⅡの成功確率はPaulらの0.54に対し本調査では0.74と高い一方、フェーズⅢから申請に至る成功確率は0.70に対し0.50と、本調査で低い結果となっている。

#### <開発期間>

国内開発の比較において、前臨床から承認までの開発期間は、前回調査の11.5年に対し本調査が9.2年であり、2年以上短縮している。前臨床の期間は3.3カ月延長しているものの、臨床試験及びフェーズⅢから承認までの期間は短縮しており、特にフェーズⅡ及びフェーズⅢの開発期間の比較では23.2ヶ月（1.9年）の短縮がみられる。

海外開発について、DiMasiら及びPaulらについては、フェーズⅠからフェーズⅢの期間はいずれも6.5年であったが、本調査では7.8年と他の2つの報告に比して1.3年長い

結果であった（図 6-4）。特にフェーズⅡの期間は、対 DiMasi らで 10.8 カ月、対 Paul らで 6.5 カ月長い結果であった。

#### <開発コスト及び被験者数>

上市に成功した場合の国内開発の開発コストについて、前回調査との比較で開発ステージごとにみると、1.6～2 倍近く増加している。被験者数は、前回調査の実施医療機関数及び 1 医療機関あたりの被験者数から推定される 600 名に対し本調査では 1,191 名と 2 倍近くに増加しており、この増加が上市に成功した場合の開発コストの上昇につながっているものと考えられる。

海外開発について、先行研究（DiMasi ら：2003）と比較すると、フェーズⅠからフェーズⅢの開発コストの合計額は、2 倍以上増加している。ただし、2010 年に発表された欧米の大手外資系企業を対象にした報告（Paul ら：2010）と比較した場合、合計額の比較において大きな差はみられなかった。

1 新薬を上市するために必要な開発コストについて、国内開発では、前回調査の 350 億円（資本コスト 9%、1995 年価格）に対し、484 億円（資本コスト 10%、2008 年価格）と大幅に上昇しており、資本コストを 7%に統一して比較した場合においても同様に開発コストは上昇していた。

海外開発については、本調査では 1 新薬を上市するために必要な開発コストを 1,764 億円と算出しており、先行研究（DiMasi 及び Paul ら）に比して 1.5～1.8 倍となっている。

#### 【まとめ】

今回の調査において、国内における 1 新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト 10%、2008 年価格の場合で 484 億円、前回調査と同じ条件で 552 億円（資本コスト 9%、1995 年価格）と、前回調査の 350 億円に比べて大幅に上昇していることが明らかとなった。開発期間は、前回調査に比べて 2 年以上短縮しているものの、主として被験者数の増加の影響で開発コストが上昇したのと考えられる。なお、今回の調査では開発コストの対象に含めていない基礎研究費、市販後調査や試験などのコスト及び導入一時金を考慮すると、1 新薬を上市するために必要な開発コストは、さらに大きくなっているものと推察される。

最近では、内資系企業も、米国を中心とした先進国市場だけでなく、成長が続く新興国市場を求めて活動の場を世界的に拡大している。市場のグローバル化は臨床開発のグローバル化を意味し、内資系企業も欧米の主要製薬企業と同様に、多地域国際共同治験（multi-regional study）の実施が必須となっている。今回の調査で明らかのように、国内開発コストに比べて海外開発コストは大きく、海外における 1 新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト 10%の場合で 1,764 億円と国内開発の 3.6 倍に達する。欧米の大手外資系企業を対象とした過去の調査において、1 新薬を上市するために必要な開発コストは 1,000 億円程度と報告されてきたが、本調査で得られた海外開発コストは高額と

なっている。欧米の大手外資系企業を対象とした先行研究の報告に比して開発コストが高額となった主要因として、本調査の海外 PJ の対象疾病のほとんどが、市場での競争が激しく既存薬との差別化に膨大な被験者数を必要とする生活習慣病に分類されるものであったことが挙げられる。また、欧米の大手外資系企業との差で考えた場合、臨床試験の実施場所の違いが挙げられる。図 3-4 で示した通り、本調査の海外開発は、日米欧の先進国で行われたプロジェクトが全体の 80% 近くを占めており、開発コストが相対的に安価とされる新興国の比率が低く、内資系企業の海外開発コストが高額となっている要因の 1 つと考えられる。

また、企業の視点で国内及び海外開発コストをみた場合、内資系企業の開発コストは、国内及び海外開発コストを合算した値に近い可能性が考えられる。一部の大手内資系企業は、欧米の大手外資系企業と同様に日米欧同時申請を目指したグローバル開発を目指しているものの、今回の調査対象時点では、内資系企業の多くが、日本と欧米への申請のための開発 PJ を別々に進めていたことが明らかとなっている。

本調査結果を先行研究結果との比較でみた場合、国内及び海外開発いずれにおいても、

- 1 新薬を上市するために必要な開発コストは高騰していることがわかる。最近、OHE (Office of Health Economics) より、主に欧米大手外資系企業を対象とした医薬品の開発コスト等を調査した複数の報告を基に、医薬品の開発コストの変化を比較検討した結果が報告されているが、この報告からも、近年、開発コストが上昇していることが明らかとなっている。このような状況の中、製薬企業は、医薬品開発の生産性向上に向けてグローバルな視点で先行開発地域を選択することはもとより、医薬品の安全性や有効性の予測性を高めるバイオマーカーの開発などの取り組みを活発化させてきている。特に開発コスト高騰に大きく影響する開発後期中止するプロジェクトを減少させることは、製薬企業にとって喫緊の課題となっている。しかしながら、国内におけるフェーズ II 以降の開発後期の成功確率は、図 6-1 で示した通り 1990 年代に比べて 2000 年代ではむしろ低下している。フェーズ II 以降で中止したプロジェクトの中止理由は、安全性や有効性の問題で中止するプロジェクトに加え、既存薬に対する優位性の問題で中止するプロジェクトが一定の割合を占める。安全性及び有効性が示されただけでは承認を取得することは難しく、また、既存薬に対する優位性を示さなければ市場の獲得が困難になっていることがその背景にあるものと考えられる。最近、がんや自己免疫疾患などのスペシャリティ領域での開発が活発化しているが、この動きはアンメット・メディカル・ニーズの充足に加え、既存薬との競合の少ない領域での開発を活発化させようとする製薬企業の戦略を映したものと捉えることができる。

医薬品開発を取り巻く環境が厳しさを増す中、製薬企業は、患者が必要とする医薬品を継続的に供給していくためにも、医薬品開発の生産性を高める努力を続けていかなければならない。

## 目 次

	Page
要約.....	i
第 1 章 はじめに.....	1
第 2 章 調査の概要.....	2
1. 調査研究の目的.....	2
2. 調査対象企業及びプロジェクト.....	2
3. 調査項目及び分析方法.....	2
4. 調査方法.....	7
第 3 章 調査対象企業及び対象プロジェクトの内訳.....	8
1 調査対象企業.....	8
2 調査対象プロジェクト.....	9
3 導入品目の導入元の内訳.....	11
4 医薬品開発業務受託機関（CRO）への委託の内訳.....	12
5 開発実施国の内訳.....	13
第 4 章 国内開発の現状.....	14
第 1 節 国内における医薬品開発の成功確率.....	14
第 2 節 国内における医薬品の開発期間.....	18
第 3 節 国内における医薬品の開発コスト及び被験者数.....	20
第 4 節 国内における 1 新薬を上市するために必要な開発コスト.....	23
第 5 章 海外開発の現状と国内開発との比較.....	26
第 1 節 海外における医薬品開発の成功確率.....	26
第 2 節 海外における医薬品の開発期間.....	29
第 3 節 海外における医薬品の開発コスト及び被験者数.....	30
第 4 節 海外における 1 新薬を上市するために必要な開発コスト.....	32
第 6 章 国内開発と海外開発の先行研究との比較.....	33
第 1 節 先行研究との比較にみる医薬品開発の成功確率の変化.....	33
第 2 節 先行研究との比較にみる医薬品の開発期間の変化.....	36
第 3 節 先行研究との比較にみる医薬品の開発コスト及び被験者数.....	38
第 4 節 先行研究との比較にみる 1 新薬を上市するために必要な開発コスト.....	41
第 7 章 結果をみる上での留意事項とまとめ.....	43

## 第1章 はじめに

当研究所では、2001年に内資系企業が1990～1999年に取り組んだ開発プロジェクトを対象として、医薬品開発の成功確率や期間及びコストなど、医薬品開発の実態を調査した<sup>1</sup>。しかしながら、2000年以降では、医薬品開発を取り巻く環境は大きく変化してきている。規制面では、医薬品の安全性に対する意識の高まりに対応して、規制当局の審査基準が厳格化され、長期的な安全性を確認することを目的とした試験の実施を要求されるケースが増加している。また、医薬品市場のグローバル化とそれに伴う製薬企業間の競争の激化の中で、新薬の有効性及び安全性に加えて既存薬との差別化を意図する大規模な比較試験が必須となっている。

そこで、2009年に新たに、製薬協加盟の研究開発型製薬企業が2000～2008年の期間に非臨床試験及び臨床試験を実施した新有効成分含有医薬品開発のためのプロジェクトを対象としたアンケート調査を行った。本稿では、内資、外資系企業を問わず研究開発型製薬企業が、2000～2008年の期間に非臨床試験及び臨床試験を実施した新有効成分含有医薬品開発のためのプロジェクトを対象としたアンケート調査に基づき、医薬品開発の成功確率や期間及び開発コストを整理した。

---

<sup>1</sup> 医薬産業政策研究所、「医薬品開発における期間と費用 ―新薬開発実態調査に基づく分析―」リサーチペーパー・シリーズ No.8 (2001年10月)。

## 第2章 調査の概要

### 1. 調査研究の目的

本調査研究の目的は、医薬品開発に関する基本的なデータを蓄積し、1つの新薬を上市するために必要な開発期間及び費用、医薬品開発の成功確率など医薬品開発の実態を明らかにすることにある。また、日本及び日本企業の医薬品開発の現状を把握するため、各臨床試験の実施期間、実施医療機関数、被験者数などについても、合わせて整理することにある。

### 2. 調査対象企業及びプロジェクト

調査対象企業は、製薬協加盟企業 69 社中、国内及び海外において新薬の研究開発を行っている研究開発型製薬企業 55 社とした。内資系企業は 38 社、外資系企業は 17 社であった。調査対象プロジェクトは、2000～2008 年の期間に非臨床試験及び臨床試験を実施した新有効成分含有医薬品開発のためのプロジェクトとした。

なお、本調査実施に先立ち行った調査対象企業へのヒアリングにおいて、内資系企業では、国内開発のコストに加え、海外開発コストも管理していることが明らかとなった。一方、外資系企業では、国内開発コストのみを管理しており、海外本社主導の国際共同治験などのコストは把握できていないことが明らかになった。そのため、本調査においては、内資系企業については、国内及び海外開発プロジェクトを、外資系企業については国内開発プロジェクトを調査対象とすることとした。

### 3. 調査項目及び分析方法

医薬品開発に関するデータを収集し、開発期間及び費用、成功確率などについて各種属性（日本企業：外資系企業、自社品目：導入品目、バイオ医薬品：低分子医薬品、薬効分類、企業規模、希少疾病用医薬品の指定の有無など）の解析を行い、医薬品開発の期間及び費用、成功確率に及ぼす影響を分析した。また、各臨床試験の実施期間、実施医療機関数、被験者数、並びに医薬品の開発中止理由などについても、各種属性が及ぼす影響について分析を加えるとともに、経年的変化についても検討を行った。

## ■ 開発期間：

本調査研究では、PJの開始時期及び終了時期、並びに各フェーズの開始時期と終了時期を、治験届提出日などを基に以下の通り定義した。

### (1) 開始時期

#### ① 非臨床試験

非臨床試験開始時期は、原則として非臨床試験の開始を意思決定した時期とする。導入品目については、導入後に自社または共同で非臨床試験を開始（意思決定）した時期とする。

#### ② 臨床試験

初回の治験届日とする。導入品目については、導入後に自社または共同で実施した最初の臨床試験の治験届日とする。なお、同一成分で複数の適応を同時に取得するために適応ごとに試験を分けて進めている場合は、それぞれの適応で最初に提出した治験届日を開始時期とする。

### (2) 終了（中止）時期

#### ① 非臨床試験

非臨床試験の中止時期は、開発中止を意思決定した時期とする。

#### ② 臨床試験

臨床試験の中止時期は、各プロトコルの治験終了届書に記載されている実施期間の終了日（医療機関における被験者の観察終了日）とする。治験を中止した場合は、治験中止届書に記載されている治験の中止時期（中止を決定した時期）とする。なお、治験終了届書及び中止届書が未提出の場合は、それぞれ医療機関における被験者の観察終了日または中止を決定した時期とする。

### (3) 国内での開発（フェーズごとの開始時期及び終了時期）

各フェーズの開始時期：各フェーズに該当する最初の治験届提出日

各フェーズの終了時期 1：次のフェーズ（または承認申請）に進む場合は次のフェーズの最初の治験届提出日（または承認申請日）

各フェーズの終了時期 2：現在のフェーズで開発を中止する場合は、社内で最終的に中止の意思決定をした時期

### (4) 海外での開発（フェーズごとの開始時期及び終了時期）

各フェーズの開始時期：各フェーズの開始を意思決定した時期（複数の地域で実施する場合は、最初に実施する地域に関する意思決定をした時期）

各フェーズの終了時期 1：次のフェーズ（または承認申請）に進む場合は次のフェーズの開始時期（または承認申請日）（複数の地域で実施する場

合は、最初に実施する地域の開始時期（または承認申請日）  
 各フェーズの終了時期 2：現在のフェーズで開発を中止する場合は、社内で最終的に  
 中止の意思決定をした時期（複数の地域で実施する場合は、  
 最後の地域に関する意思決定をした時期）

■ 審査期間：

承認申請期間には、追試験や資料の修正、追加などを求められることもあり、審査期間は単に審査サイドの時間だけでなく、申請サイドの時間も含まれる。ここでは、審査期間の開始と終了を次のように定義した。

(1) 国内

審査の開始：厚生労働省への承認申請日

審査の終了：承認取得日、または承認申請取り下げ日

(2) 海外

審査の開始：海外の規制当局への承認申請日（複数国に申請する場合は、最初に申請した国への承認申請日）

審査の終了：承認取得日、または取り下げ日（複数国に申請する場合は、最初に承認を取得した（取り下げた）国の承認取得日（取り下げ日））

■ 開発コスト（開発費用）：

(1) 調査対象項目

本調査研究における開発費用は、基礎研究費用を除く、企業の内部で消費される内部費用と、企業の外部へ支払われる外部費用を合算した費用と定義した。本調査研究で調査対象とした外部費用及び内部費用の項目を表 2-1 に示す。

表 2-1 内部費用及び外部費用

内部費用の中に含まれる主な費用項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>・人件費（給与、賞与、福利厚生費）</li> <li>・行動費（交通費、交際費）</li> <li>・設備費（オフィス賃借料、オフィス減価償却費含む）</li> <li>・事務費その他（消耗品費、備品費など）</li> </ul>
外部費用の中に含まれる主な費用項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>・治験機関、CRO に支払う費用</li> <li>・研究会費用</li> <li>・非臨床試験の委託費用</li> <li>・検査費用</li> <li>・対照薬費用</li> <li>・承認申請、機構相談費用</li> <li>・導入費用</li> </ul>

(2) 調査対象部門

開発費用の対象部門は表 2-2 に示す通りとした。

表 2-2 開発費用の対象部門

臨床開発部門	<ul style="list-style-type: none"><li>・モニタリング部門</li><li>・レポート部門</li></ul>
臨床支援部門	<ul style="list-style-type: none"><li>・データマネジメント</li><li>・統計解析部門</li><li>・GCP 担当部門</li><li>・臨床薬理部門</li><li>・臨床監査 (QA、QC) 部門</li></ul>
臨床関連部門	<ul style="list-style-type: none"><li>・製剤技術</li><li>・安全性</li><li>・薬物動態</li><li>・代謝</li><li>・薬理</li><li>・治験薬開発、製造</li></ul>
間接接部門	<ul style="list-style-type: none"><li>・上記部門の間接部門</li><li>・申請関連薬事業務</li><li>・導入出業務</li><li>・特許業務</li><li>・研究開発推進、研究開発企画</li></ul>

■ 導入費用：

導入品目については、導入一時金、達成金など、導入元に支払うすべての費用を含めて集計した。

■ 被験者数：

治験終了届書または中止届書に記載されている（記載予定の）被験者数を採用した。

■ その他：

非臨床試験とフェーズ I から III の進行が開発の順序と一致しないこともあるが、本調査研究では開発が次のステップに進んだことを形式的に表すために、非臨床試験とフェーズ I、フェーズ II、フェーズ III、審査という表現を使用した。

なお、フェーズ I/II やフェーズ II/III と位置付けられている試験については、原則、フェーズ I/II についてはフェーズ II と、フェーズ II/III はフェーズ III として扱った。

■ 成功確率：

基本的に 1 つの新有効成分含有医薬品（品目）に対し 1 プロジェクトであるが、同一品

目で異なる適応の開発を同時に進めている場合及び1つの品目を国内・海外いずれでも行っている場合は、別プロジェクトとして扱った。

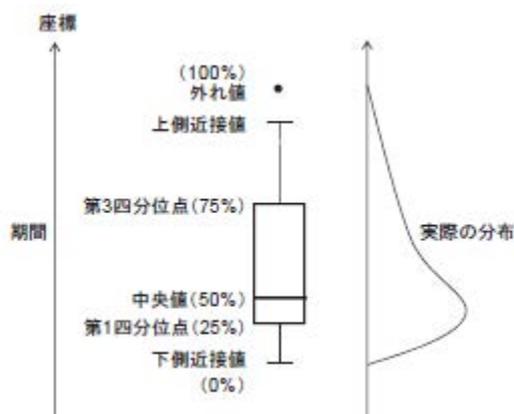
成功確率については、ステージアップごとに集計することとした。例えば、前臨床試験からフェーズ I への成功確率は、前臨床試験を終了あるいは中止したすべての PJ を母数とし、フェーズ I に移行（あるいは移行を決定）している PJ を成功した PJ として分母とし、成功確率を算出した。なお、前臨床試験あるいはフェーズ I から承認に至る成功確率は、各ステージアップの成功確率を乗じた数値で示している。

#### ■ 基本統計量：

開発期間及び被験者数については、PJ 間でバラツキが大きいことから、主たる基本統計量は中央値とした。また、一部の解析結果は、データの分布がわかるよう箱ひげ図で示した（図 2-1）。箱ひげ図の箱の中央の線は中央値（50%）、箱の下端、上端の線はそれぞれ第 1 四分位点（25%）、第 3 四分位点（75%）を示している。すなわち、100 個のサンプルがあった場合、25 番目のサンプルの値が第 1 四分位点、50 番目が中央値、75 番目が第 3 四分位点となる。

箱の上下の近接値（ひげ）は箱の高さ（第 1 四分位点～第 3 四分位点の長さ）の 1.5 倍以内で中央値から最も離れているサンプルを示している。近接値外にある外れ値は点として示される。

図 2-1 箱ひげ図



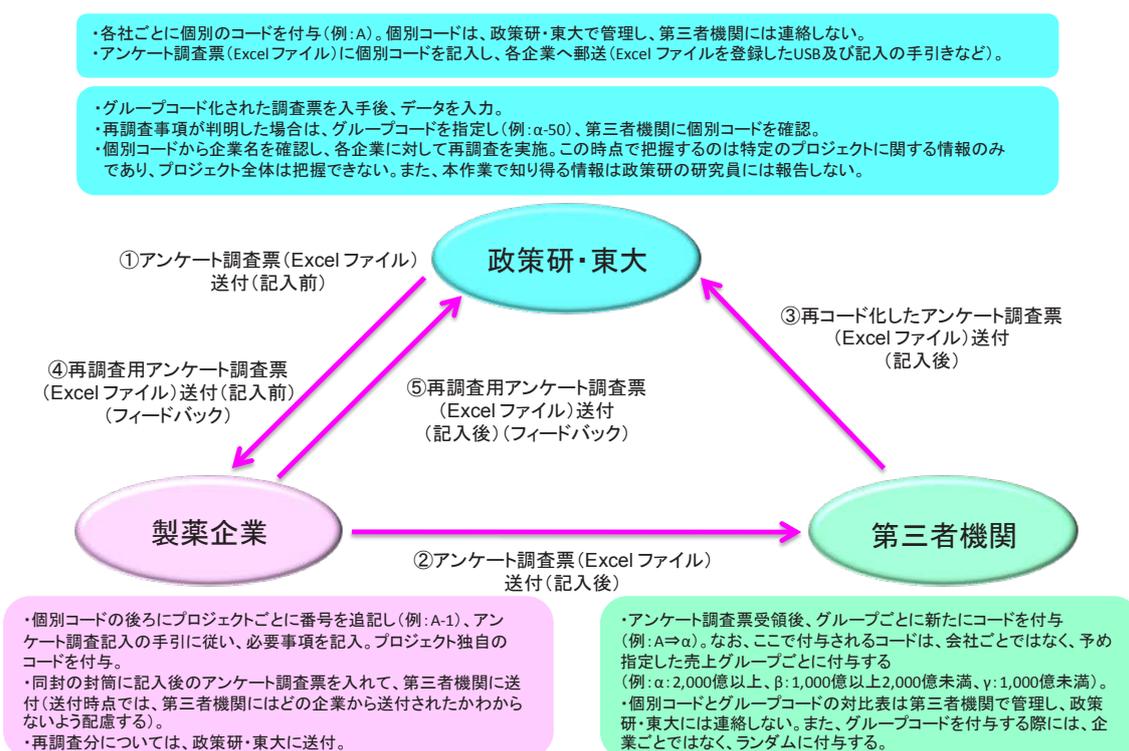
#### 4. 調査方法

2000～2008年の期間にNME開発のための研究開発を行っている企業に対し、アンケート回答形式（Excelファイルへの入力）によるデータ収集の協力を依頼した。

本調査の調査対象とするデータは、各企業の開発戦略など企業の根幹にかかわる重要なデータである。そのため、各企業にご記入頂いたアンケート調査票は、第三者機関内に設置した本調査専用窓口を送付いただき、内資系企業及び外資系企業に分けて下記に示す売上規模で3つのグループ（売上規模：2,000億円以上、1,000億円以上2,000億円未満、1,000億円未満）ごとにプロジェクト番号をコーディング後、企業単位の分析が出来ない状態で医薬産業政策研究所に送付される体制で運用した（図2-2）。

調査データについては、コーディングされたデータを用いて、政策研にて調査データの解析作業等を行った。

図2-2 アンケート調査及びデータ集計・分析体制



### 第3章 調査対象企業及び対象プロジェクトの内訳

本調査実施に先立ち行った調査対象企業へのヒアリングにおいて、内資系企業では、国内開発のコストに加え、海外開発コストも管理していることが明らかとなった。一方、外資系企業では、国内開発コストのみを管理しており、海外本社主導の国際共同治験などのコストは把握できていないことが明らかになった。そこで、本調査においては、内資系企業については国内及び海外開発プロジェクトを、外資系企業については国内開発プロジェクトを調査対象とすることとし、内資系及び外資系企業のいずれに対してもアンケート調査を行った。しかしながら、外資系企業においては、国内申請に必要な臨床試験の開発コストの一部を本国が負担している場合もあり、厳密に国内での開発コストを算出することは困難と考えられた。

そのため、本報告においては、内資系企業の開発PJを対象として、国内及び海外開発PJを分析対象とすることとした。

内資系企業では、国内開発のコストに加え、海外開発コストも管理していることが明らかとなった。一方、外資系企業では、国内開発コストのみを管理しており、海外本社主導の国際共同治験などのコストは把握できていないことが明らかになった。そのため、本調査においては、内資系企業については、国内及び海外開発プロジェクトを、外資系企業については国内開発プロジェクトを調査対象とすることとした。

#### 1 調査対象企業

アンケート調査票を送付した調査対象内資系企業38社中27社(71.1%)よりアンケート調査票を回収した(表3-1)。売上別にみると、2,000億円以上の企業からのアンケートが全体の64.5%を占めており、1,000億円以上2,000億円未満の企業と1,000億円未満の企業からそれぞれ16.1%、19.3%のアンケートを回収した。

表3-1 アンケート調査票回収状況

売上規模 (連結)	回収状況				
	企業数	有効回答数	有効回答率(%)	回収プロジェクト数	回収プロジェクトの割合(%)
2,000億円以上	11	10	90.9	304	64.5
1,000億円以上- 2,000億円未満	7	6	85.7	76	16.1
1,000億円未満	20	11	55.0	91	19.3
小計	38	27	71.1	471	100.0

## 2 調査対象プロジェクト

表 3-2 に分析対象プロジェクト (PJ) <sup>2</sup>の内訳を示している。

成分種別でみると、低分子医薬品が 471PJ 中 427PJ と全体の 9 割を占め、生物製品<sup>3</sup>は 30PJ (6.4%) であった。国内・海外開発の開発地域別にみても、その構成はほぼ同様であった。

表 3-2 対象プロジェクトの内訳

	国内開発	海外開発	未記入	合計	割合(%)
<b>成分種別</b>					
低分子医薬品	270	155	2	427	90.7
生物製品	18	12		30	6.4
その他	12	2		14	3.0
<b>対象疾病</b>					
消化器・代謝(糖尿病含む)疾患	56	32		88	18.7
悪性腫瘍(癌)	32	21		53	11.3
精神神経系疾患	26	24		50	10.6
心血管系疾患	23	25		48	10.2
感染症	19	11		30	6.4
筋骨格系疾患	19	7		26	5.5
呼吸器系疾患	17	7	1	25	5.3
その他	108	42	1	151	32.1
<b>希少疾病用医薬品の指定の有無</b>					
有	4	2	2	8	1.7
<b>オリジン(自社品目/導入品目)</b>					
自社品目	181	134	2	317	67.3
導入品目	119	35		154	32.7
合計	300	169	2	471	100.0

対象疾病別<sup>4</sup>では、「消化器・代謝(糖尿病含む)疾患」が 88PJ (18.7%)、「悪性腫瘍(癌)」が 53PJ (11.3%)、「精神神経系疾患」が 50PJ (10.6%) の順に多く、開発地域別にみても疾病構成に大きな差はみられなかった。

希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品は、8PJ (1.7%) であった。

オリジン別にみると、自社品目が 317PJ と全体の 7 割近くを占めていた。開発地域に分けてみると、国内開発 300PJ のうち自社品目は 181PJ と 6 割であったが、海外開発プ

<sup>2</sup> 基本的に 1 つの新有効成分含有医薬品(品目)に対し 1 プロジェクトであるが、同一品目で異なる適応の開発を同時に進めている場合及び 1 つの品目を国内・海外いずれでも行っている場合は、別プロジェクトとして扱っている。

<sup>3</sup> 生物製品は、「バイオテクノロジー応用医薬品」及び「生物起源由来医薬品」を指している。

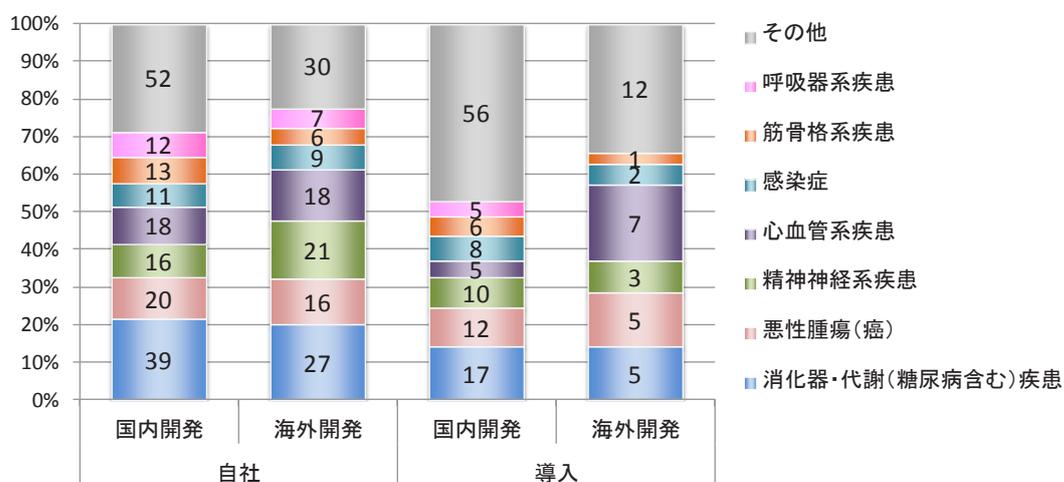
<sup>4</sup> 国際疾病分類第 10 版(2003 年改訂)に基づき作成した対象疾病の選択肢(アンケート調査票)の疾病名をそのまま使用している。

プロジェクトでは、169PJ 中自社品目が 134PJ と 8 割近くを占めていた。内資系企業では、海外に進出する場合、自社品目の開発を進めていく傾向が強いと考えられた。

対象プロジェクトを、対象疾病別に国内開発及び海外開発、自社及び導入品目に分けてみたのが図 3-1 である。

国内開発でみると、導入品目で「その他」に分類される疾病が多いものの、対象疾病に大きな差はみられなかった。国内開発と海外開発を比べても、特に自社品目の比較においてはほぼ同様であり、国内と海外で対象疾病に異なる傾向はみられなかった。

図 3-1 対象プロジェクトの内訳



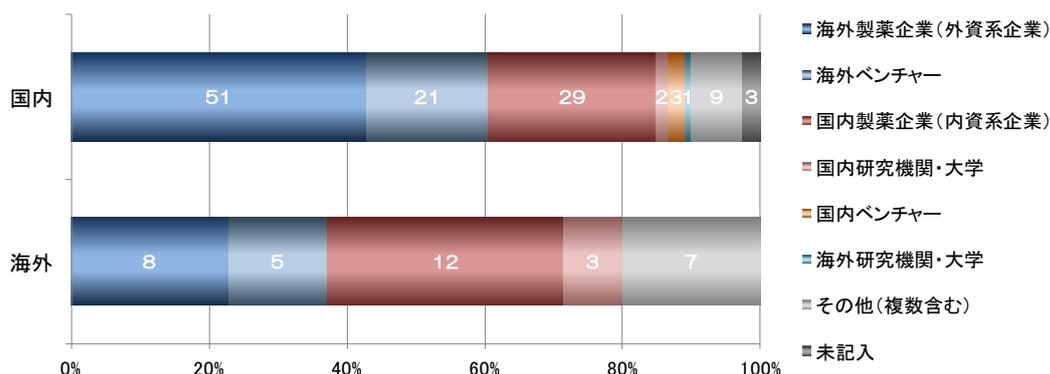
### 3 導入品目の導入元の内訳

導入品目の導入元企業、ベンチャー、研究機関・大学などの内訳を構成比で示しているのが図 3-2 である。

国内開発プロジェクトをみると、海外製薬企業（外資系企業）からの導入が 4 割超を占めており、国内に十分な開発・販売基盤のない外資系企業と、開発品目の不足に悩む国内製薬企業（内資系企業）との連携の構図が浮き彫りとなった。一方、国内の研究機関・大学やベンチャーからの導入の割合は 5%にも満たず、極めて少なかった。

同様に海外開発プロジェクトをみると、内資系企業からの導入の割合が 3 割超と最も高く、海外開発を進める内資系企業は、海外において十分な開発・販売基盤のない内資系企業からの導入も積極的に行っているものと推察された。これに続いて、外資系企業及び海外ベンチャーからの導入が多い結果であり、国内の研究機関・大学やベンチャーからの導入は 1 つもなかった。

図 3-2 導入元の内訳（国内開発及び海外開発）

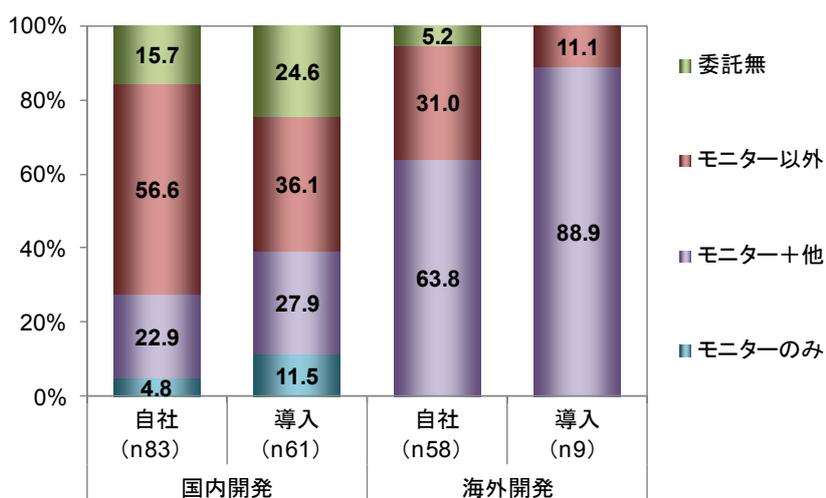


#### 4 医薬品開発業務受託機関（CRO）への委託の内訳

図 3-3 は、本調査で分析対象としたプロジェクトのうち、フェーズ I 以降の臨床ステージに移行したプロジェクトを対象として、医薬品開発業務受託機関（以下、CRO）への委託の有無及び委託内容を示している<sup>5</sup>。

国内開発でみると、自社品目で 84%、導入品目では 75%のプロジェクトで開発業務を CRO に委託していた。委託内容は自社品目では 50%以上がモニター以外の業務であるのに対し、導入品目でモニターを含む業務とモニター以外の業務がほぼ同様の割合であった。自社品目の国内開発と海外開発を比較すると、海外開発では 95%のプロジェクトを CRO へ委託しており、モニターを含む業務が全体の 64%強を占めていた。海外においては、一部の大手企業を除き自社での十分な開発体制を構築できておらず、主要な開発業務であるモニター業務を中心に CRO に委託する割合が国内開発に比べて高くなっているものと推察される。

図 3-3 CRO への業務委託の内訳

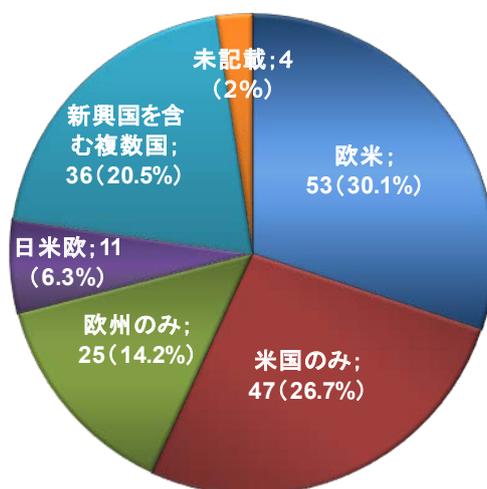


<sup>5</sup> CRO への委託の有無及び委託内容はプロジェクト単位で集計しており、プロトコルごとの集計ではない。フェーズ I 以降の臨床ステージに移行した 415 プロジェクトのうち、CRO への委託に関する情報が得られた 211 プロジェクトを対象とした。

## 5 開発実施国の内訳

図 3-4 は、本調査で分析対象とした海外開発プロジェクトの開発実施国の内訳を示している。開発実施国は、欧米及び米国のみで実施したプロジェクトが全体の 6 割近くを占めており、欧州のみを含め先進国で実施されるプロジェクトが約 8 割にのぼっていた。ただし、欧米を除く新興国を含む国または地域で実施されるプロジェクトも 2 割強を占めていた。最近、内資系企業も中国や東欧など開発コストが先進国に比して相対的に安価な新興国での治験を増加してきており、今後、この傾向は強まっていくものと考えられる。

図 3-4 開発実施国の内訳 (176 プロジェクト)

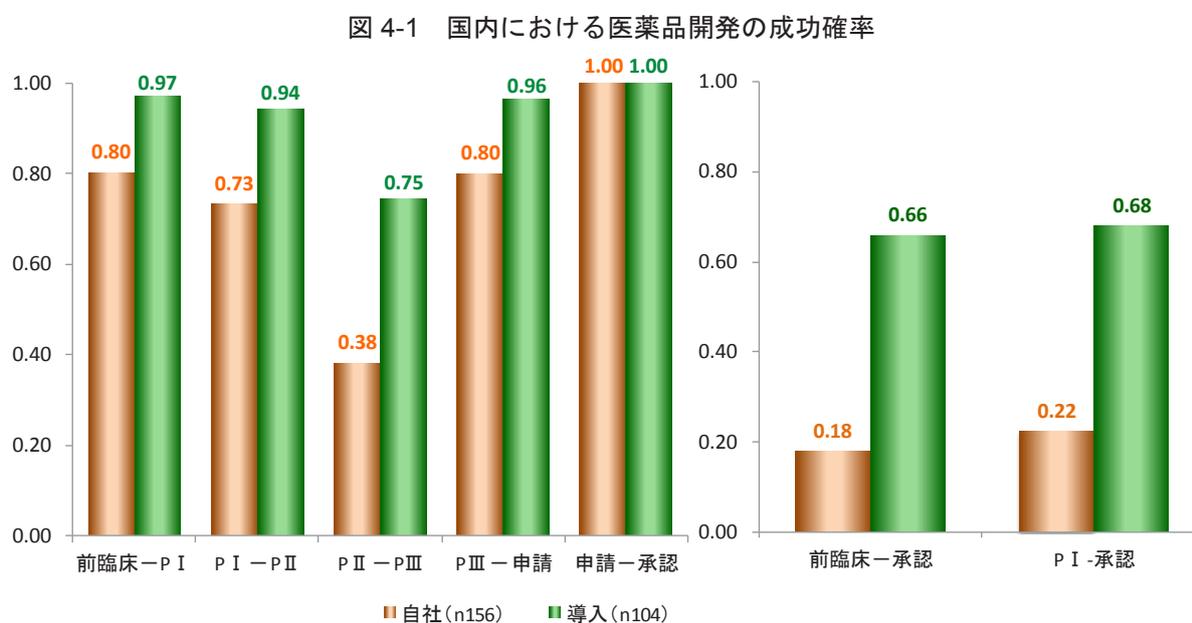


## 第4章 国内開発の現状

### 第1節 国内における医薬品開発の成功確率

#### 1. 成功確率

最初に、国内における医薬品開発の成功確率をみてみよう。図4-1は、国内で実施した開発プロジェクトを対象に、開発ステージごとの成功確率（左図）及び前臨床またはフェーズⅠから承認に至る確率（右図）を、自社品目及び導入品目のオリジン別に示している。



注1：1つの有効成分で同時に複数の適応の開発を進めている場合は、いずれのプロジェクトも採用している。ただし、先行しているプロジェクトから1年以上遅れて開始しているプロジェクトについては、適応拡大プロジェクトとみなし、成功確率の集計から除外している。

注2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注3：中止の有無が確認できない企業（1社）については、成功確率の集計から除外している。

注4：フェーズⅠ/ⅡはフェーズⅡとして、フェーズⅡ/ⅢはフェーズⅢとして扱っている。

注5：2005～2008年の分類には、一部2009年に中止したプロジェクトを含めている。

自社品目と導入品目の比較において、前臨床試験<sup>6</sup>から承認に至る成功確率は、自社品目で0.18に対し導入品目で0.66であり、すべてのステージ別でみた場合においても導入

<sup>6</sup> 本稿では、動物等を対象とした試験を「非臨床試験」とし、このうちヒトを対象とした臨床試験を開始するまでに実施する非臨床試験を「前臨床試験」と定義する。

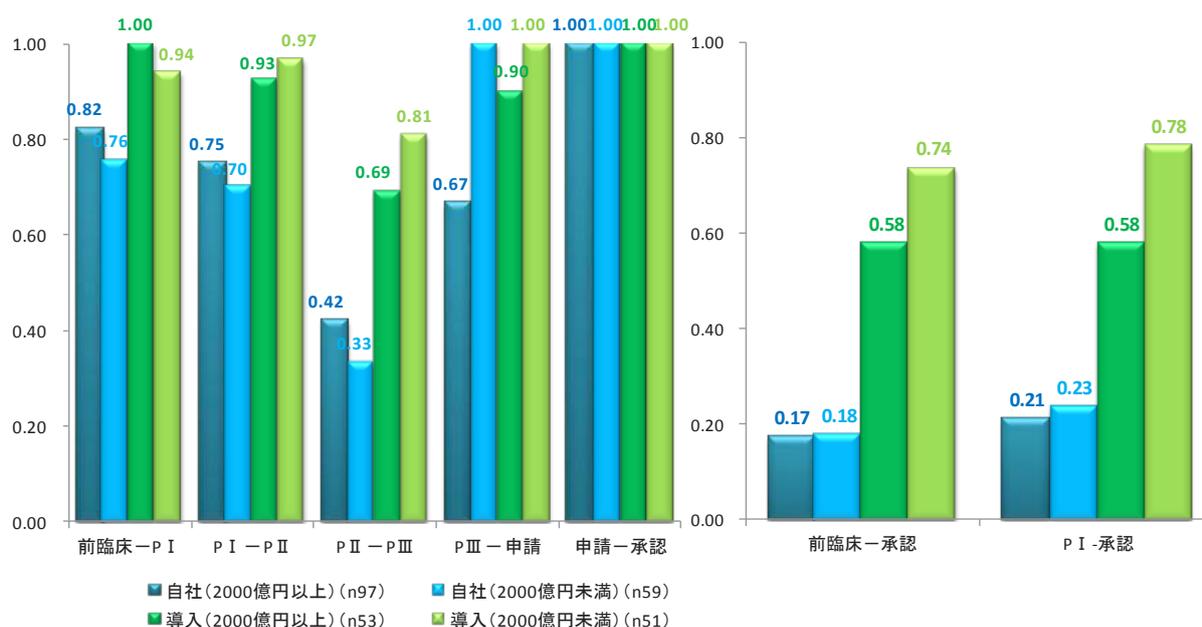
品目の成功確率が高かった。自社品目に比べ導入品目の成功確率が高かった要因として、導入時の開発ステージがフェーズⅡ以降の比較的ステージが進んだものが全体の約4割と高い割合を占めていることが挙げられる。

## 2. 企業規模別にみた成功確率

次に、国内における医薬品開発の成功確率を企業規模別にみてみよう。図4-2は、自社品目を対象に、売上2,000億円以上の企業と2,000億円未満の企業で成功確率を比較したものである。

前臨床から承認に至る成功確率（右図）をみると、自社品目の比較においては、2,000億円以上の企業で0.17、2,000億円未満の企業で0.18とほぼ同様であったが、導入品目でみると、0.58に対し0.74と、2,000億円未満の企業が高い結果であった。

図4-2 国内における企業規模別にみた医薬品開発の成功確率（自社品目及び導入品目）



注1：図4-1に同じ。

ステージ別にみると（左図）、フェーズⅡからフェーズⅢに至る成功確率の差が大きく、2,000億円以上の企業で0.69に対し、2,000億円未満の企業で0.81と、2,000億円未満の企業の成功確率が高かった。本調査においては、PJの市場性に関する情報が十分に得られておらず要因を明らかにすることは困難であるが、2,000億円以上の企業の開発PJの中止

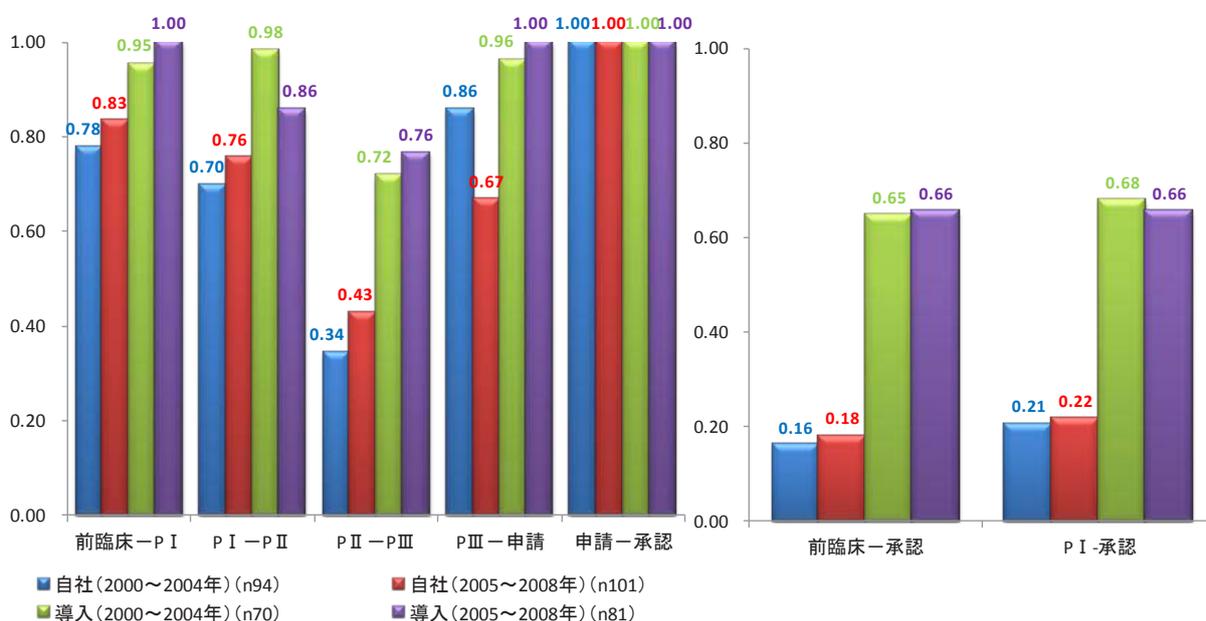
理由として既存薬またはプラセボに対する優位性の問題が挙げられている<sup>7</sup>。2,000億円未満の企業に比して2,000億円以上の企業は、市場での競争が激しく既存薬との差別化が相対的に困難なPJを進めていることが影響している可能性が考えられる。

### 3. プロジェクトの実施時期別にみた成功確率

国内における医薬品開発の成功確率を、プロジェクトの実施時期別に2000～2004年と2005～2008年に分けて比較したのが図4-3である。

自社品目をみると、前臨床から承認に至る成功確率（右図）は0.16から0.18へ、フェーズⅠから承認では0.21から0.22へと上昇傾向がみられるものの、大きな変化はみられない。しかしながら、これをステージ別にみると（左図）、前臨床からフェーズⅢに至る確率について、前臨床から順に0.78から0.83、0.70から0.76、0.34から0.43へといずれのステージにおいても上昇している。一方、フェーズⅢから申請に至る確率は0.86から0.67へ低下しており、全体の成功確率に大きな変化はみられないものの、実施時期別にみると、開発中止のタイミングが開発後期にずれ込んでいることが分かる。

図4-3 国内における実施時期別にみた医薬品開発の成功確率（自社品目及び導入品目）



注1：図4-1に同じ。

<sup>7</sup> 医薬産業政策研究所。「医薬品の開発中止理由—アンケートによる実態調査—」政策研ニュース No.30 (2010年4月)

導入品目については、前臨床から承認に至る成功確率は 0.65 から 0.66 へ上昇、フェーズ I から承認では 0.68 から 0.66 に低下しているものの、自社品目と同様に大きな変化はみられなかった。ステージ別では、自社品目とは異なり一定の傾向はみられなかった。

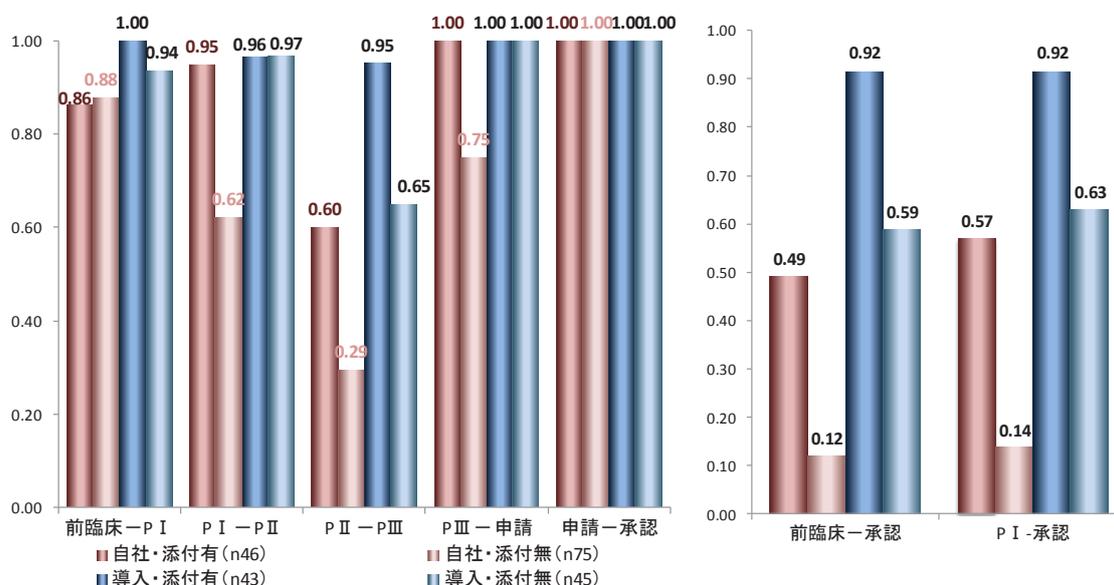
#### 4. 申請時の海外データ添付の有無別にみた成功確率

国内における医薬品開発の成功確率を、申請時の海外データ添付の有無別、自社または導入品目別にみたのが図 4-4 である。

自社品目及び導入品目のいずれにおいても、添付有の方が成功確率が高かった。海外開発を先行した場合、一定の条件が整えば、日本での申請時に海外データを評価資料として添付することが可能であり、海外開発を先行させることにより、国内での成功確率が上昇することを示していると解釈できる。

また、自社品目と導入品目を比較してみると、自社品目に比べて導入品目の方が成功確率が高かった。この要因として、「第 4 章第 1 節-1」で述べたとおり、導入時の開発ステージがフェーズ II 以降の比較的ステージが進んだものが全体の約 4 割と高い割合を占めていたことが挙げられる。

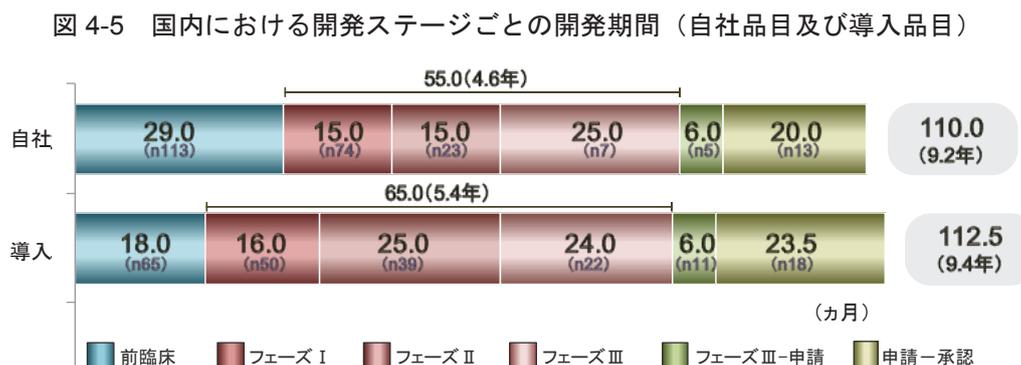
図 4-4 国内における海外データ添付の有無別にみた医薬品開発の成功確率  
(自社品目及び導入品目)



注 1 : 図 4-1 に同じ。

## 第 2 節 国内における医薬品の開発期間

図 4-5 は、国内における前臨床試験から承認までの開発ステージごとの開発期間を、オリジン別に示している。



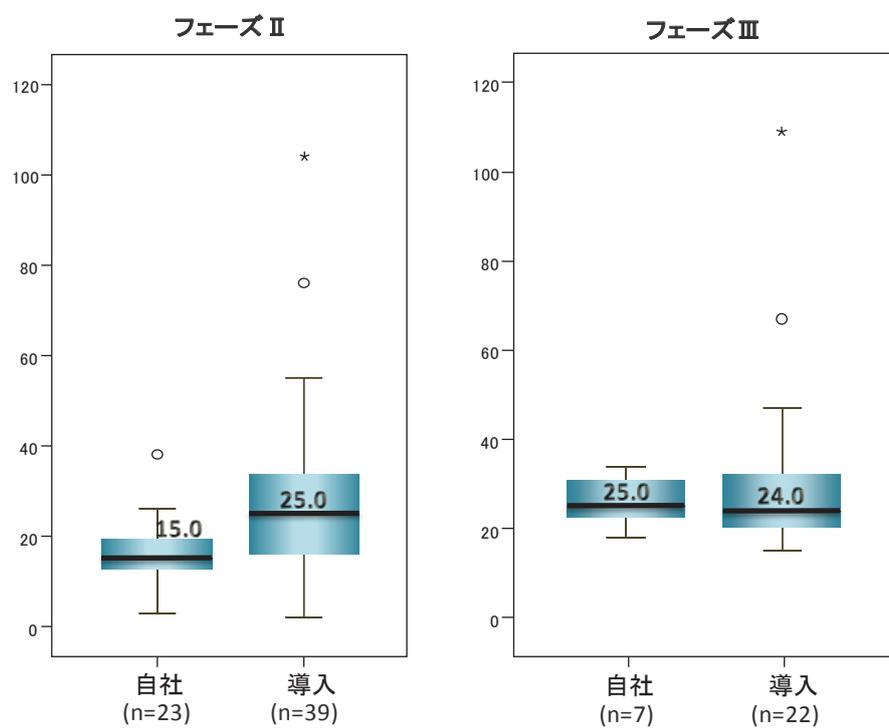
注 1：フェーズ I/II はフェーズ II として、フェーズ II/III はフェーズ III として扱っている。

注 2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注 3：図中の値は中央値で示している。

前臨床試験から承認までの各ステージに要した期間（中央値）の合計は、自社品目で 110.0 ヶ月（9.2 年）、導入品目で 112.5 ヶ月（9.4 年）であり、ほとんど差はみられなかった。ただし、フェーズ I からフェーズ III の臨床開発の期間で見ると、自社品目が 55.0 ヶ月（4.6 年）と導入品目に比して短く、特にフェーズ II の期間は、導入品目に比べて 10.0 ヶ月短かった（図 4-6）。導入品目のオリジン企業（導入元企業）をみると、海外製薬企業及び海外ベンチャーからの導入が全体の 6 割を超えている。海外から導入した品目については、多くの場合、フェーズ II の段階で主要な海外開発試験成績を申請データとして使用するために、民族差等の検討を目的としたブリッジング試験を実施し、その結果を用いて申請データパッケージについての相談を規制当局と行うものと考えられる。フェーズ II の段階でのブリッジング試験の実施・評価に加え、これらデータについて規制当局との相談に費やす期間を要したことが、自社品目に比べてフェーズ II の期間が長くなった要因の 1 つと推察される。

図 4-6 国内におけるフェーズⅡ及びフェーズⅢの開発期間（自社品目及び導入品目）



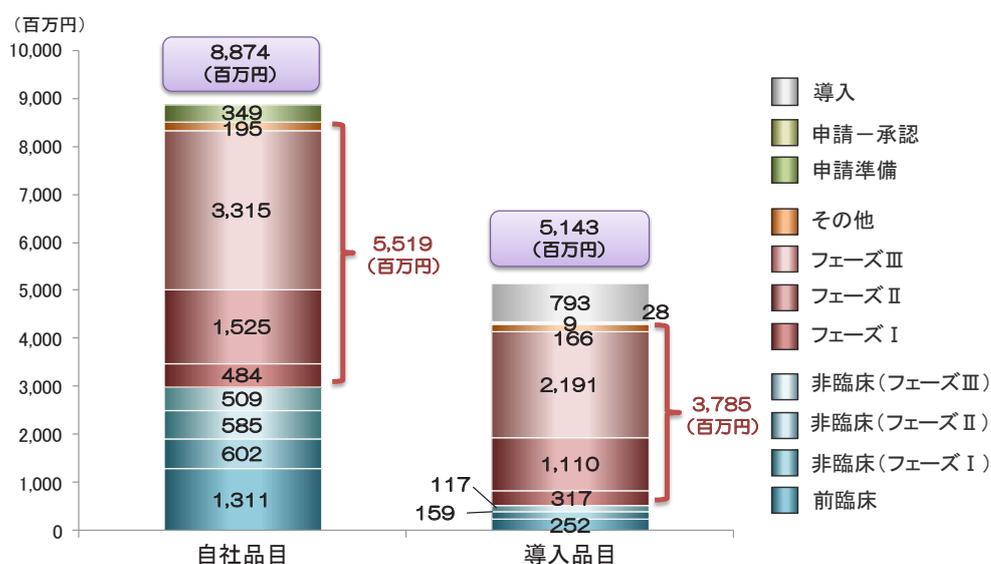
注 1：図 4-5 に同じ

### 第3節 国内における医薬品の開発コスト及び被験者数

#### 1. 上市に成功した場合の開発コスト

図4-7は、上市に成功した場合の開発コストを、開発ステージ別、オリジン別に示したものである<sup>8</sup>。

図4-7 国内における上市に成功した場合の開発コスト（自社品目及び導入品目）



- 注1：フェーズⅠ/ⅡはフェーズⅡとして、フェーズⅡ/ⅢはフェーズⅢとして扱っている。  
 注2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。  
 注3：導入費用は、開発の進捗に伴い発生する費用を集計しており、導入一時金は含まれていない。  
 注4：非臨床試験については、臨床試験開始までに行われた非臨床試験（前臨床試験）と、臨床試験開始以降に行われた非臨床試験を開発ステージごとに分けて示している。  
 注5：図中の値は中央値で示している。

国内開発についてみると、前臨床試験から承認まで至った上市に成功した場合の開発コスト（中央値）の合計は、自社品目の88億円に対し導入品目では51億円と、自社品目が

<sup>8</sup> 開発コストは内部費用及び外部費用を含めて集計している。内部費用には給与、賞与及び福利厚生費などの人件費が含まれ、一部の企業においては交通費などの行動費が含まれる。外部費用には、治験実施医療機関やCROへの支払い費用などが含まれる。なお、集計に用いる開発コストについては、開発実施年ごとに得られた開発コストデータを、国内開発及び海外開発それぞれ下記GDPデフレーターを用いて2008年価格に変換した値を用いている。海外開発については、主な開発実施国である米国のGDPデフレーターを使用している。  
 ・国内開発：内閣府 統計情報・調査結果で公開されている日本のGDPデフレーター  
 ・海外開発：U.S. Bureau of Economic Analysis (BEA) が公開している米国のGDPデフレーター

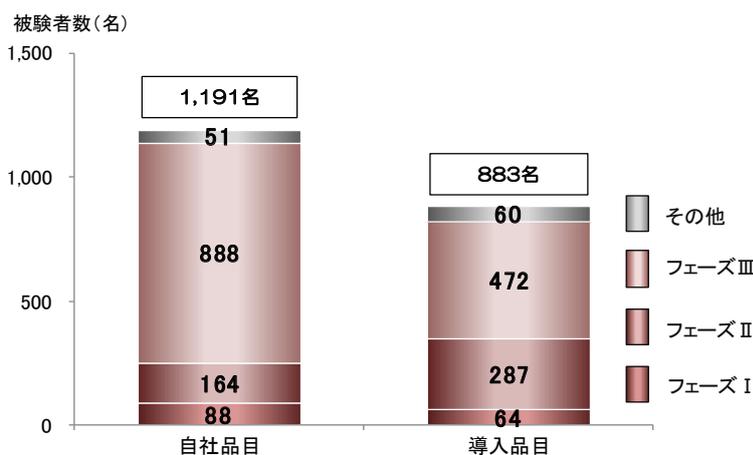
高い結果であった。この違いの主な要因として非臨床試験のコストが挙げられる。自社品目の国内開発について非臨床試験の割合をみると、上市に成功した場合の開発コスト全体の34.8%を占めていた。自社品目では、申請に必要な非臨床試験をすべて行う必要があるが、導用品目の場合、導入元企業が実施した非臨床試験成績を申請データとして使用することができるため、申請に必要な非臨床試験の一部を自社で行う必要がない。近年、医薬品の臨床開発コストの高騰がしばしば指摘されるが、非臨床試験の開発コストも重要な要因であると推察される。生物製品については、低分子医薬品に比して製造コストが高額であり、非臨床試験のコスト上昇の要因の1つとなっている。今回のアンケート調査において、全PJに占める生物製品の割合は6.4%（471PJ中30PJ）と小さく、低分子医薬品との比較は実施していないが、近年、生物製品の研究開発が活発化してきており、非臨床試験のコストはこれまで以上に上昇してくるものと推察される。

これらを考慮し非臨床試験を除いたフェーズⅠからフェーズⅢの合計で比較した場合、自社品目の55億円に対し、導用品目では開発の進捗に伴い発生する導入費用を除いた場合で37億円であり、ここでみられる18億円が臨床試験における開発コストの差となる。

## 2. 被験者数

臨床試験の開発コストに違いが生じる主な要因として、被験者数の差が挙げられる。被験者数をみると、自社品目の1,191名に対し、導用品目では883名と自社品目の約7割であった（図4-8）。

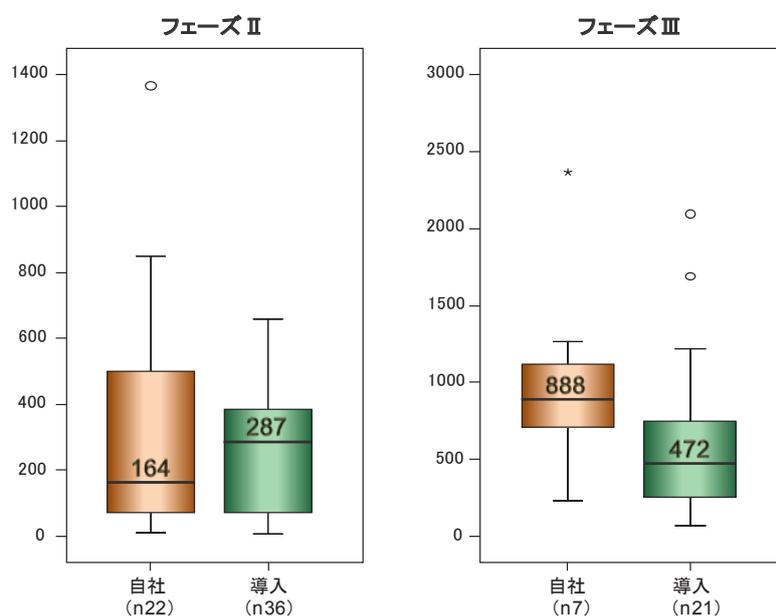
図4-8 国内における開発ステージ別被験者数（自社品目及び導用品目）



注1：図4-5に同じ

導入品目については、一定の条件を満たせば国内または海外臨床試験の成績を申請資料として使用できるため、すべての試験を自社で行う必要がない<sup>9</sup>。特に、海外試験成績が申請データとして用いられることの多いフェーズⅢの被験者数を比較すると、自社品目の888名に対し、導入品目で472名と約半数の規模となっている（図4-9）。被験者数は開発プロジェクトの対象疾病によって異なることが報告されているが<sup>10</sup>、各分類の対象疾病の構成に大きな差はみられなかったことから、海外臨床試験成績の使用により申請に必要な被験者数が減少し、開発コストが低く抑えられているものと考えられる。

図4-9 国内における開発ステージ別被験者数（フェーズⅡ、Ⅲ）



注1：図4-5と同じ

<sup>9</sup> 医薬発第739号 平成10年8月11日「外国で実施された医薬品の臨床試験データの取扱いについて」

<sup>10</sup> 医薬産業政策研究所. 「国内における新医薬品の臨床データパッケージ」リサーチペーパー・シリーズ No.38 (2008年3月)

#### 第4節 国内における1新薬を上市するために必要な開発コスト

これまで、アンケート調査で得られたデータを用いて医薬品の成功確率や開発期間及び上市に成功した場合の開発コストに関するデータを示してきたが、次に、これらデータを用いて1新薬を上市するために必要な開発コストを推計してみる。なお、このコストを算出するためには、下記に示す2つの点を考慮する必要がある。

第一に、成功確率が100%でない限り、1新薬を上市するために必要な開発コストは、中止したプロジェクトの開発コストを含めて算出する必要がある。自社品目では、国内開発の場合、前臨床試験から承認に至る成功確率が0.18であるから、5.6PJに対して1プロジェクトが承認に至る計算になる<sup>11</sup>。また、推計に使用する開発コストも、成功確率で調整して算出する1プロジェクトあたりの期待開発コストに修正する必要がある。前臨床試験はすべてのプロジェクトで実施されるため図4-7で示した通り13.1億円必要であるが、前臨床試験からフェーズIに移行する確率は0.80のため、フェーズIの期待開発コストは、実際に要した開発コスト10.9億円（フェーズIと同時期に行われた非臨床試験：6.02億円、フェーズI試験：4.84億円）に0.80を掛けた8.7億円となる。開発ステージごとに算出した期待開発コストの合計額（1プロジェクトあたりの期待開発コスト）は44億円となり、1新薬を上市するために必要な開発コストは、5.6PJに1PJが承認に至ることから、44億円の5.6を掛けて得られた245億円となる。

第二に、医薬品の開発には、図4-5で示した通り、10年以上にわたる期間を要するため、資本コスト<sup>12</sup>の概念を用いて、投資した金額及び時期を考慮した開発コストを調整する必要がある。

つまり、1新薬を上市するために必要な開発コストは、成功確率や開発期間の影響を考慮する必要がある。

なお、資本コストは、回収したプロジェクトの6割以上を占める売上高2,000億円以上の大手製薬企業と、2,000億円未満の企業でそれぞれ最も多く使用されている10%及び7%とした。

<sup>11</sup> 成功確率が0.18のため、1新薬を上市するためには $1 : 0.18 = 5.6 : 1$ であり、5.6PJのうち1PJが上市に至る計算となる。

<sup>12</sup> アンケート調査において、各社で現在価値を算定する際の割引率に使用している加重平均資本コスト（Weighted Average Cost of Capital ; WACC）を調査している。

## 1. 上市に成功した場合の開発コスト及び1プロジェクトあたりの期待開発コスト

国内開発PJを対象として、資本コスト別に自社品目と導入品目に分けて、ステージごとに上市に成功した場合の開発コストを示したのが表4-1、これに成功確率を乗じた1プロジェクトあたりの期待開発コストを示したのが表4-2である。

上市に成功した場合の開発コストを、自社品目と導入品目の合計で比較してみると、資本コスト10%（7%）の場合で、自社品目の158億円（133億円）に対し、導入品目では88億円（75億円）と、約1.8倍の開きがみられた。この差がみられた要因として、導入品目では、導入元が実施した臨床試験を用いて申請が可能であり、一部の臨床試験を実施せずに申請可能であることが挙げられる。特に、前臨床試験及びフェーズⅠ試験の開発コストをみると、自社品目と導入品目で3倍以上の開きがみられる。

表4-1 国内における上市に成功した場合の開発コスト（資本コスト別、2008年価格）

単位:百万円

開発地域	オリジン	資本コスト (%)	前臨床	フェーズⅠ	フェーズⅡ	フェーズⅢ	申請準備-承認	合計
国内開発	自社	10	3,170	2,215	3,838	6,215	439	15,877
		7	2,452	1,801	3,226	5,475	411	13,364
	導入	10	634	1,058	2,094	5,066	47	8,898
		7	485	839	1,741	4,460	44	7,568

注1: 表中の値は中央値で示している。

注2: 希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト(8PJ)は、集計から除外している。

注3: 「自社品目」及び「導入品目」において、フェーズⅠからⅢに分類されない“その他”の試験のコストは、フェーズⅢに含めて集計している。また、「導入品目」については、導入費用をフェーズⅢに含めて集計している。なお、導入費用は、開発の進捗に伴い発生する費用を集計しており、導入一時金は含まれていない。

表4-2 国内における1プロジェクトあたりの期待開発コスト（資本コスト別、2008年価格）

単位:百万円

開発地域	オリジン	資本コスト (%)	前臨床	フェーズⅠ	フェーズⅡ	フェーズⅢ	申請準備-承認	合計
国内開発	自社	10	3,170	1,777	2,250	1,392	79	8,667
		7	2,452	1,444	1,891	1,226	74	7,087
	導入	10	634	1,027	1,918	3,456	31	7,064
		7	485	814	1,595	3,042	29	5,964

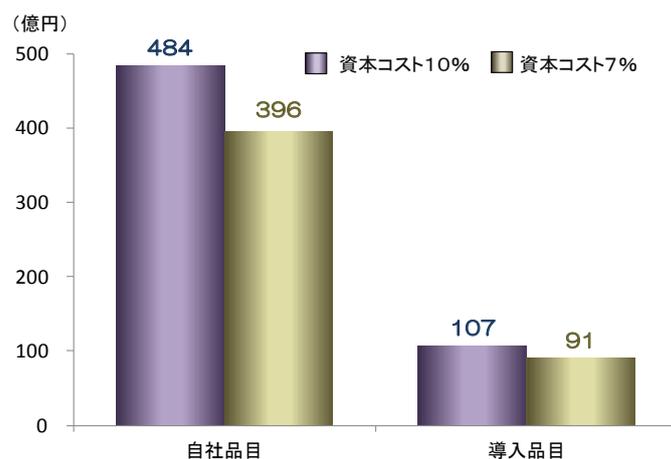
注1: 表4-1に同じ

## 2. 1 新薬を上市するために必要な開発コスト

図 4-10 は、国内開発品目を対象として、1 新薬を上市するために必要な開発コストを、自社品目と導入品目に分けて、資本コスト別に示している。

表 4-2 で示した 1 プロジェクトあたりの期待開発コストを基に算出した 1 新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト 10% の場合、自社品目で 484 億円であり、導入品目の 107 億円の 4.5 倍であった。上市に成功した場合の開発コスト（図 4-7 上市に成功した場合の開発コスト）の合計値の差以上に 1 新薬を上市するために必要な開発コストの差が大きくなっている要因として、第一に、自社品目は、導入品目に比べて開発初期に多くのコストを要する非臨床試験のコストが多いこと、第二に成功確率が低いことが挙げられる。

図 4-10 国内における 1 新薬を上市するために必要な開発コスト（自社品目及び導入品目）  
（資本コスト別、2008 年価格）



注 1：図中の値は中央値で示している。

注 2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注 3：「自社」及び「導入」において、フェーズⅠからⅢに分類されない“その他”の試験のコストは、フェーズⅢに含めて集計している。また、「導入」については、導入費用をフェーズⅢに含めて集計している。なお、導入費用は、開発の進捗に伴い発生する費用を集計しており、導入一時金は含まれない。

## 第5章 海外開発の現状と国内開発との比較

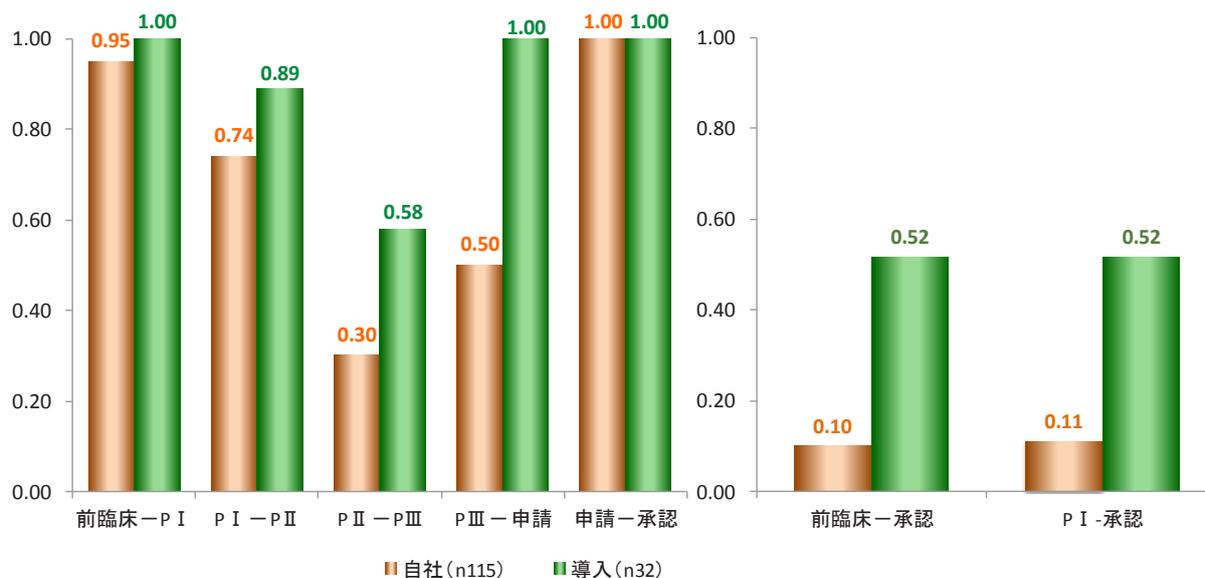
次に、海外開発の現状を、国内開発との比較を交えてみてみよう。

### 第1節 海外における医薬品開発の成功確率

#### 1. 成功確率

海外における成功確率を、自社品目と導入品目に分けてみたのが図5-1である。自社品目と導入品目の比較において、前臨床試験から承認に至る成功確率（右図）は、自社品目で0.10に対し導入品目では0.52と、自社品目に比して導入品目の方が高かった。ステージ別の成功確率（左図）をみても、いずれも導入品目の方が高く、国内開発と同様の結果であった。

図5-1 海外における医薬品開発の成功確率（自社品目及び導入品目）



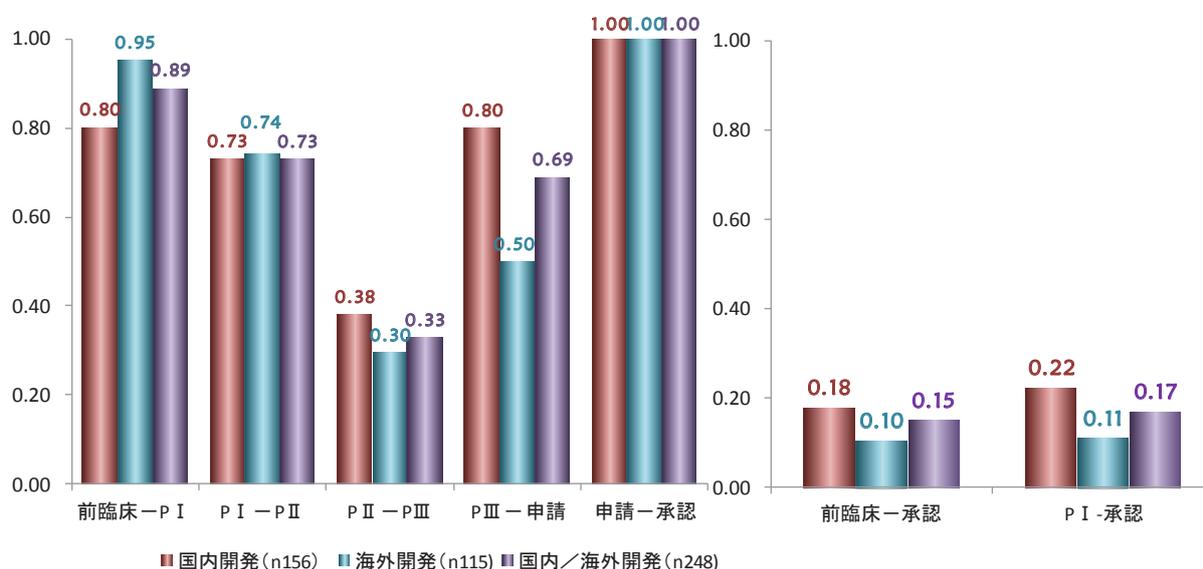
注1：図4-1に同じ。

次に、海外開発の成功確率を国内開発との比較でみたのが図5-2である。前臨床試験から承認に至る成功確率（右図）は、国内開発の0.18（図4-1）に対し海外開発では0.10と海外開発の成功確率が低い結果であった。海外開発の成功確率が低い要因として、国内・海外いずれでも開発している品目のうち、海外開発を先行している品目が多いことが挙げられる。自社品目では、国内・海外いずれでも臨床開発を行っている63品目のうち、海外開発先行が24品目と全体の4割近くを占め、国内開発先行は7品目であった。

なお、国内・海外いずれでも開発しているプロジェクトについては、先行している地域

のプロジェクトのみを採用して、国内・海外開発プロジェクトをあわせて集計した場合（国内／海外）、前臨床試験から承認に至る成功確率は0.15であった。

図 5-2 国内及び海外における医薬品開発の成功確率（自社品目）

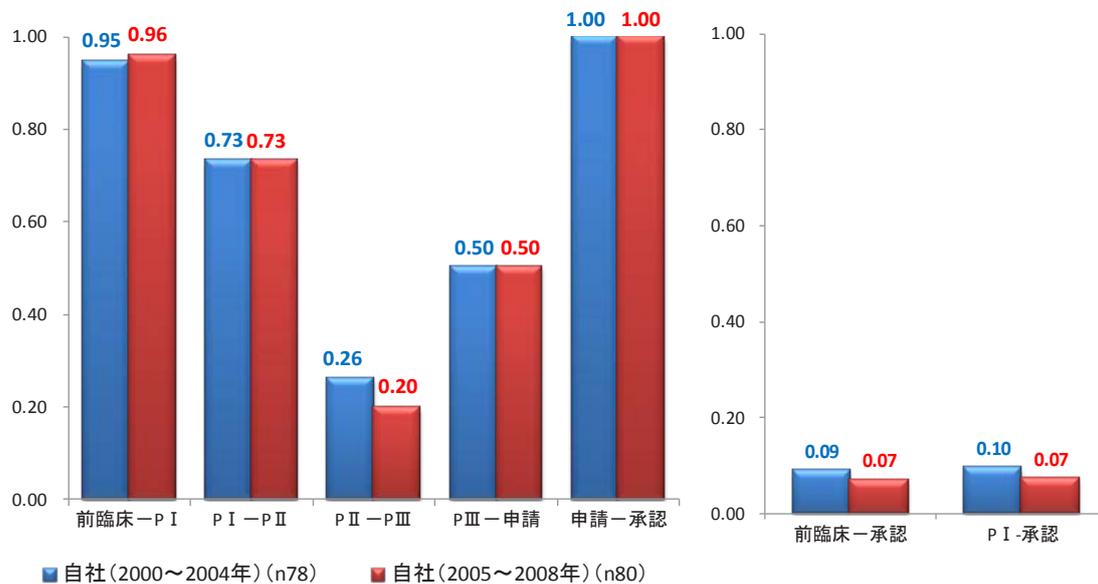


注 1：図 4-1 に同じ。

## 2. プロジェクトの実施時期別にみた成功確率

海外における医薬品開発の成功確率を、自社品目を対象に実施時期別に 2000～2004 年と 2005～2008 年に分けて比較したのが図 5-3 である。前臨床から承認に至る成功確率（右図）は 0.09 から 0.07 へ、フェーズ I から承認では 0.10 から 0.07 へと低下傾向がみられた。国内開発では、前臨床から承認に至る成功確率は 0.16 から 0.18 へ、フェーズ I から承認では 0.21 から 0.22 へと上昇傾向がみられており（図 4-3 実施時期別にみた国内における成功確率）、海外開発とは逆の傾向であった。既述の通り、最近では売上上位 4 社以外の大手企業も海外開発を先行する品目が増加しており、2000～2004 年に比して 2005～2008 年の方が海外先行品の比率が高い。海外開発を先行させることにより国内開発の成功確率が高まる一方、海外開発の成功確率が低下しているものと推察される。

図 5-3 海外における実施時期別にみた医薬品開発の成功確率（自社品目）



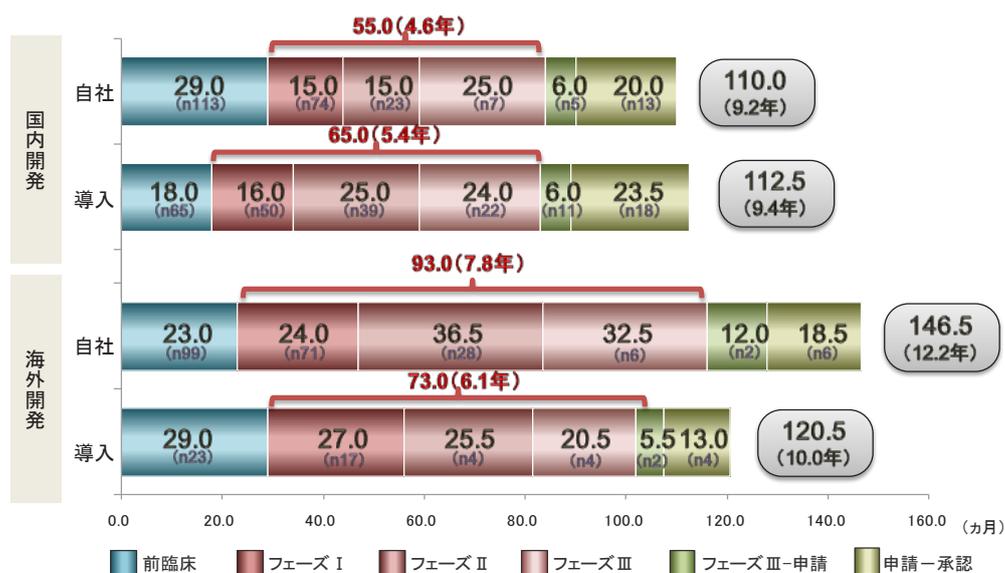
注 1：図 4-1 に同じ。

## 第2節 海外における医薬品の開発期間

図5-4は、海外における前臨床試験から承認までの開発ステージごとの開発期間を、国内開発を比較において示している。

自社品目の国内開発と海外開発の開発期間を比較すると、海外開発は146.5ヶ月（12.2年）と、国内開発の110.0ヶ月（9.2年）に比べて3年長かった。開発ステージ別にみても「申請－承認」を除き、すべてのステージにおいて海外開発の方が長くなっていた。内資系企業が進出を加速している米国では、既存薬との差別化のための大規模な比較試験の必要性が高く、また、最近では、規制当局の医薬品に対する安全性意識の高まりから、安全性データに関する要求が厳しさを増している。申請に求められる試験規模の拡大や被験者数の増加が、海外開発期間の長期化に関連していると考えられる。

図5-4 国内及び海外における開発ステージごとの開発期間（自社品目）



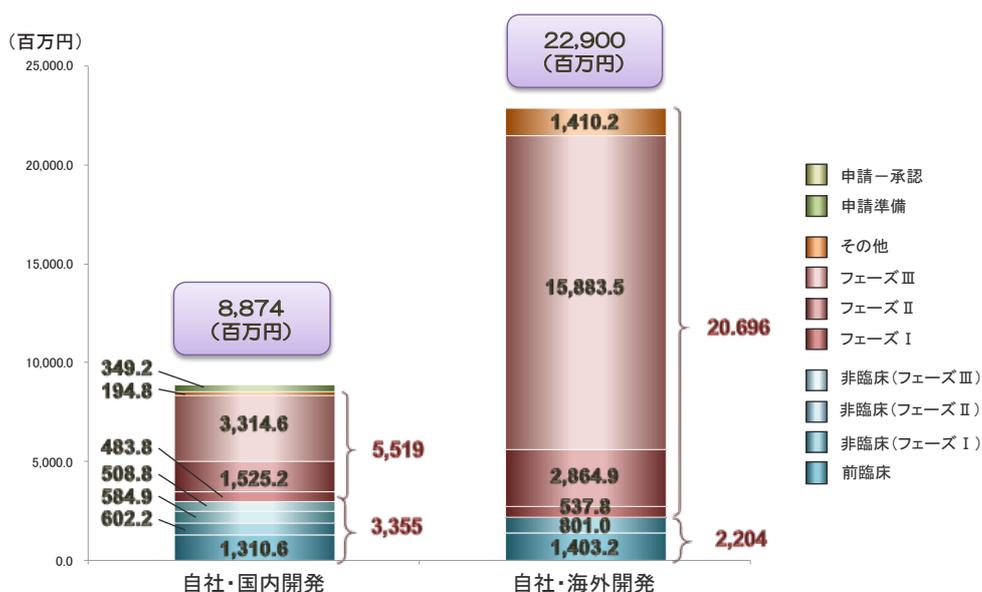
注1: 図4-5に同じ。

### 第3節 海外における医薬品の開発コスト及び被験者数

#### 1. 上市に成功した場合の開発コスト

図5-5は、国内及び海外開発における上市に成功した場合の医薬品の開発コストを開発ステージごとに分けて示している。前臨床試験から承認まで至った上市に成功した場合の開発コスト（中央値）は、国内開発の88億円に対し、海外開発では2.6倍の229億であったが、非臨床試験のコストをみると、国内開発（33億円）の方が海外開発（22億円）よりも高い結果となっている。今回の集計では、同じ医薬品でも、国内と海外で別々に行っているものについては、別PJとして扱ったため、国内の研究所で非臨床試験を行った場合は、国内PJにコストが計上されていると想定され、国内開発の非臨床試験コストが海外開発のそれに比べて高くなった要因と考えられる。

図5-5 国内及び海外における上市に成功した場合の開発コスト（自社品目）



注1：フェーズ I/IIはフェーズIIとして、フェーズII/IIIはフェーズIIIとして扱っている。

注2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注3：非臨床試験については、臨床試験開始までに行われた非臨床試験（前臨床試験）と、臨床試験開始以降に行われた非臨床試験を開発ステージごとに分けて示している。

注4：図中の値は中央値で示している。

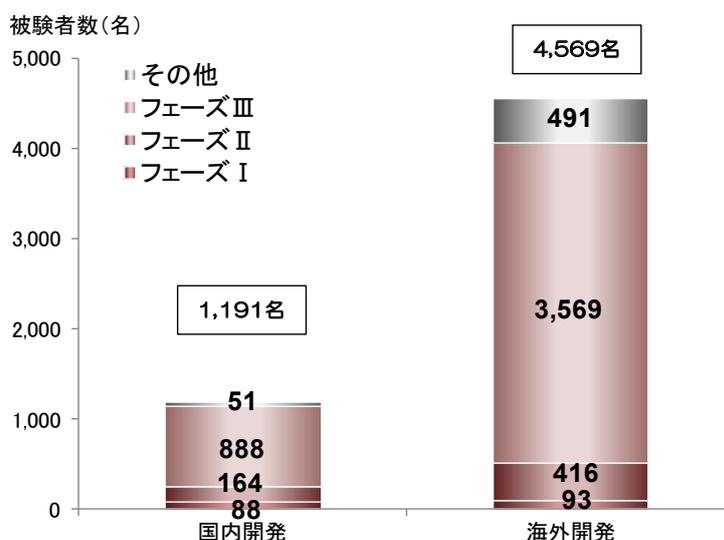
一方、非臨床試験を除いたフェーズ I からフェーズ III（その他含む）の上市に成功した場合の国内及び海外開発コストの比較では、海外開発コストは国内開発（55億円）の3.8倍の206億円であり、特にフェーズ IIIでは、海外開発は国内開発の4.8倍の規模となっている。既述の通り、世界最大の市場である米国は競争が激しく、承認を取得するためだけ

でなく、上市後を念頭に置いた既存薬との差別化のための大規模な比較試験の必要性が高まってきている。また、安全性データに関する要求が厳しさを増していることから、これまで以上に試験規模の拡大や被験者数の増加が目立っており、このような傾向が開発コスト増加の主な要因と考えられる。

## 2. 被験者数

図 5-6 は、開発ステージ別の海外開発の被験者数を国内開発との比較で示している。フェーズ I からフェーズ III の各ステージで実施した臨床試験の合計被験者数をみると、国内開発の 1,191 名に対し海外開発では 4,569 名と、開発コストと同じく 3.8 倍であった。特にフェーズ III の被験者数の差が大きく、海外開発（3,569 名）は国内開発（888 名）の 4 倍であった。前述の通り、フェーズ III の開発コストが国内開発に比べて海外開発が高い主な要因が被験者数であることがわかる。

図 5-6 国内及び海外における開発ステージ別被験者数（自社品目）



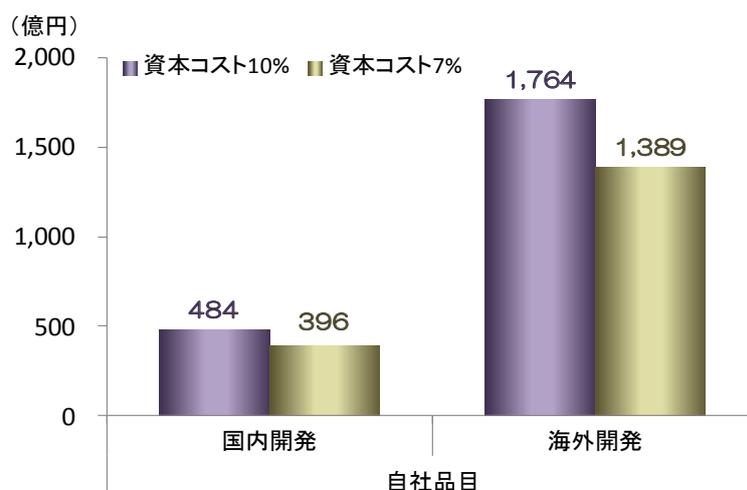
注 1：図 4-5 に同じ。

#### 第4節 海外における1新薬を上市するために必要な開発コスト

次に、国内開発と海外開発の1新薬を上市するために必要な開発コストをみてみよう。図5-7では、国内開発及び海外開発の開発コストを、資本コストが7%の場合と10%の場合に分けて示している。

自社品目における国内開発と海外開発との比較では、1新薬を上市するために必要な海外開発コストは、国内開発の3.6倍の1,764億円（資本コスト10%）であった。1新薬を上市するために必要な開発コストは、成功確率が低い方が、開発期間が長い方が、また、各フェーズの開発コストが高い方が高くなる。前臨床から承認に至る海外開発の成功確率は、国内開発の0.18に比べて0.10と低く、開発期間は3年長く、開発コストは2.6倍高いことから、1新薬を上市するために必要な開発コストは、国内開発に比べて海外開発の方が高くなっている。

図5-7 国内及び海外における1新薬を上市するために必要な開発コスト  
(自社品目：資本コスト別、2008年価格)



注1：図中の値は中央値で示している。

注2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注3：フェーズⅠからⅢに分類されない“その他”の試験のコストは、フェーズⅢに含めて集計している。

## 第6章 国内開発と海外開発の先行研究との比較

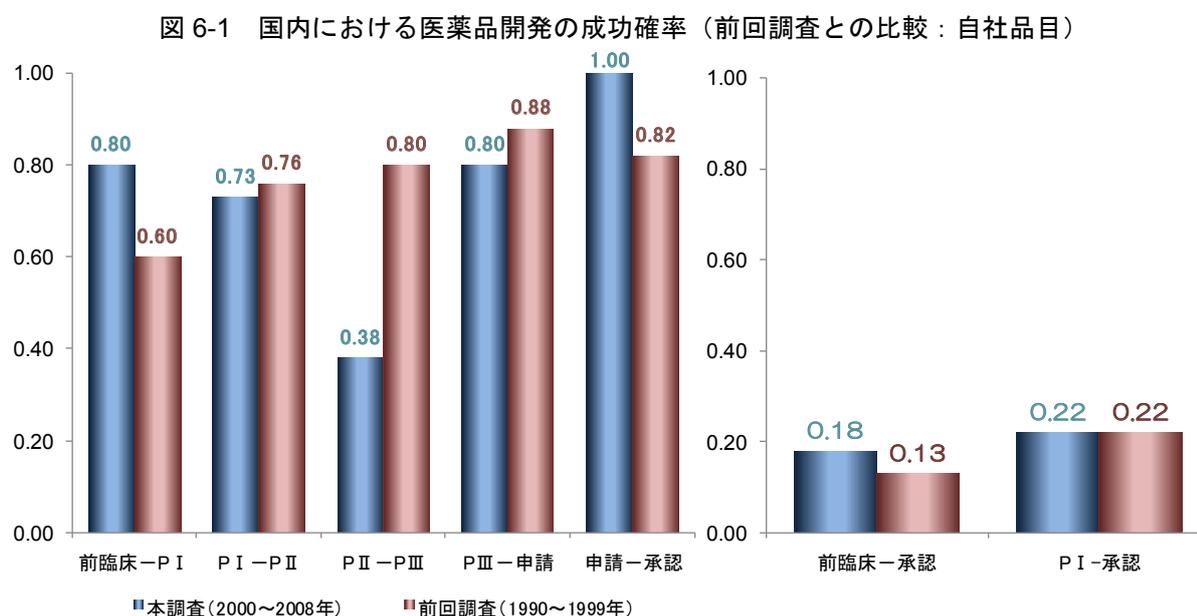
続いて、国内開発及び海外開発の現状を、先行研究との比較でみてみよう。

### 第1節 先行研究との比較にみる医薬品開発の成功確率の変化

#### 1. 国内における医薬品開発の成功確率の変化

最初に、国内における医薬品開発の成功確率を、先行研究との比較でみてみよう。図6-1では、自社品目を対象とした国内開発の成功確率を、先行研究（前回調査：1990～1999年）<sup>13</sup>との比較でみている。

前臨床試験から承認に至る成功確率（右図）は0.18で、前回調査の0.13に比べて高い値となっている。この要因として前臨床試験からフェーズIに移行する確率が前回調査の0.60から0.80へと上昇したことが挙げられる。薬物動態の予測技術などの進歩により、基礎研究段階から前臨床試験に移行するプロジェクトが精査されたことが、成功確率の上昇につながったものと推察される。



注1：図4-1に同じ。

<sup>13</sup> 医薬産業政策研究所。「医薬品開発における期間と費用 ―新薬開発実態調査に基づく分析―」リサーチペーパー・シリーズ No.8（2001年10月）。

一方、フェーズⅠから承認に至る成功確率を比較した場合、前回調査の0.22と同じ確率となっている。内資系企業は、医薬品市場のグローバル化に伴い、医薬品開発の活動の場を米国を中心に世界的に拡大してきている。前回調査では、海外開発の割合は320PJ中49PJと全体の15%であったが、本調査では471PJ中169PJで全体の36%とプロジェクト数及び割合ともに増加している。また、2000年前後からは内資系企業においても海外での開発を先行するプロジェクトが増加してきており<sup>14</sup>、本調査においても回答が得られたプロジェクトでは、国内開発先行に比べて海外開発先行プロジェクトが多く、その結果、国内開発の成功確率が高くでている可能性がある。前述の通り、前臨床から承認に至る海外開発の成功確率は、国内開発に比して低く(0.10)、医薬品の成功確率は低下しているものと考えられる。

なお、フェーズⅠから承認に至る成功確率をステージ別にみると(左図)、フェーズⅡからフェーズⅢに至る成功確率は、前回調査の0.80に対し本調査では0.38と低下する一方、申請から承認に至る成功確率は、前回調査の0.82に対し本調査では1.00と上昇している。フェーズⅡからフェーズⅢに至る成功確率の低下は、先行研究当時に比べて医薬品開発の競争激化が影響している可能性が考えられる。一方、申請から承認に至る成功確率の上昇は、当局(PMDA)の申請前相談を含む相談体制の整備により、申請前の段階で中止を決定するPJが増加したことが影響しているものと推察される。

## 2. 海外における医薬品開発の成功確率の変化

図6-2では、国内開発と同様に、海外における医薬品開発の成功確率を先行研究との比較でみている。

海外開発においては、前回調査では調査対象としておらず、国内開発のように過去との厳密な比較はできない。そのため、医薬品の成功確率や開発コストの調査で引用されることの多いDiMasi<sup>15,16</sup>ら、及び調査対象PJの実施時期が本調査の対象PJとほぼ同時期のPaul<sup>17</sup>らが主に欧米の大手外資系企業に対して行った調査結果を海外開発の比較対象として、本調査の結果を考察した

本調査の対象PJの実施年が2000～2008年に対し、DiMasiらの対象は1993～2004年、

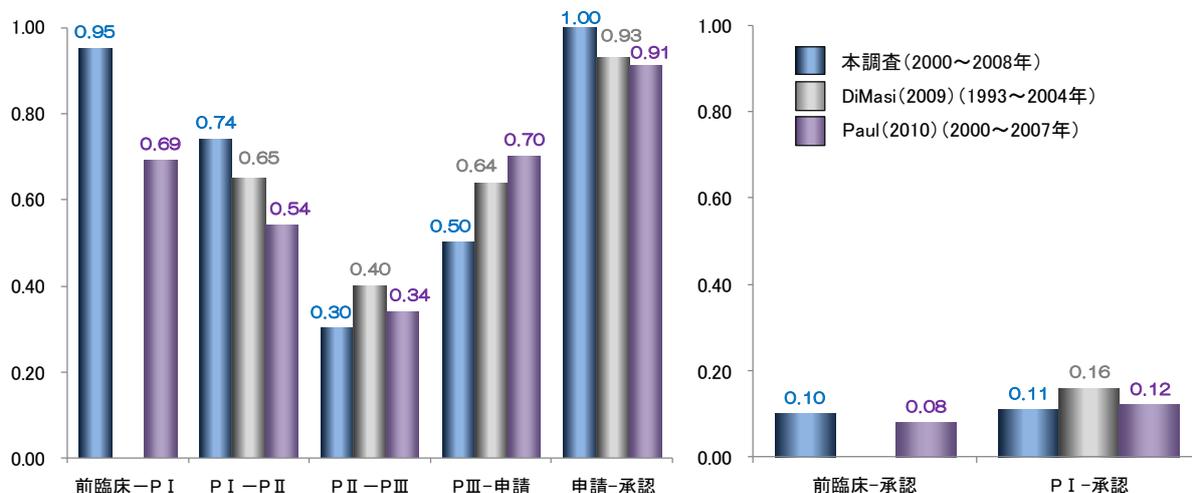
<sup>14</sup> 医薬産業政策研究所。「一段と進む日本企業による新薬開発の海外シフト」政策研ニュース No.22(2007年3月)

<sup>15</sup> DiMasi, J.A. et al. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics* 2003; 22: 151-185.

<sup>16</sup> Joseph A. DiMasi, et al. Large pharma success rate for drugs entering clinical trials in 1993-04: 16%. *Tufts CSDD Impact Report*. Volume 11, Number 4 July/August 2009

<sup>17</sup> Steven M. Paul. et al. How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. *Nature Rev. Drug Discov.* 2010(March 9): 203-214

図 6-2 海外における医薬品開発の成功確率（先行研究との比較：自社品目）



注 1：図 4-1 に同じ。

Paulらは2000～2007年に実施されたPJを対象として、成功確率を算出している。DiMasiら及びPaulらの調査対象は同一ではないものの、主に欧米の大手外資系企業であることから、外資系企業の成功確率の変化をみる事ができる。一方、調査対象PJの実施時期がほぼ同じPaulらの結果と、本調査の結果は、欧米の大手外資系企業と本調査の対象である内資系企業の医薬品の成功確率を比較することが可能と考えられる。

最初に、欧米の大手外資系企業の変化を、DiMasiらとPaulらの結果の比較でみてみよう。DiMasiらの調査はフェーズI以降が対象となっているため、フェーズIから承認に至る成功確率（右図）を比較してみると、成功確率は0.16から0.12に低下している。最近では、費用が膨大にかかるフェーズIIIから承認の成功確率を高める一方で(0.64→0.70)、フェーズIIIに移行するまでの判断を厳密に行うため、フェーズIからフェーズII(0.65→0.54)、フェーズIIからフェーズIII(0.40→0.34)の成功確率が低下しており、この結果、全体として成功確率が低下しているものと考えられる。

次に、Paulらの結果と本調査の結果を比較してみよう。前臨床から承認に至る成功確率（右図）は、Paulらの0.08に対し本調査では0.10、同様にフェーズIから承認に至る成功確率をみると、0.12に対し0.11とほぼ同様の結果となっている。前臨床からフェーズIに至る成功確率は、Paulらの0.69に対し本調査では0.95と高い結果となっている。これは、本調査の前臨床試験を毒性試験等のGLP試験と定義したため、フェーズIへの成功確率が高いものを対象としたことに起因すると考えられる。フェーズI以降をみてみると、フェーズIからフェーズIIの成功確率はPaulらの0.54に対し本調査では0.74と高い一方、フェーズIIIから申請に至る成功確率は0.70に対し0.50と、本調査で低い結果と

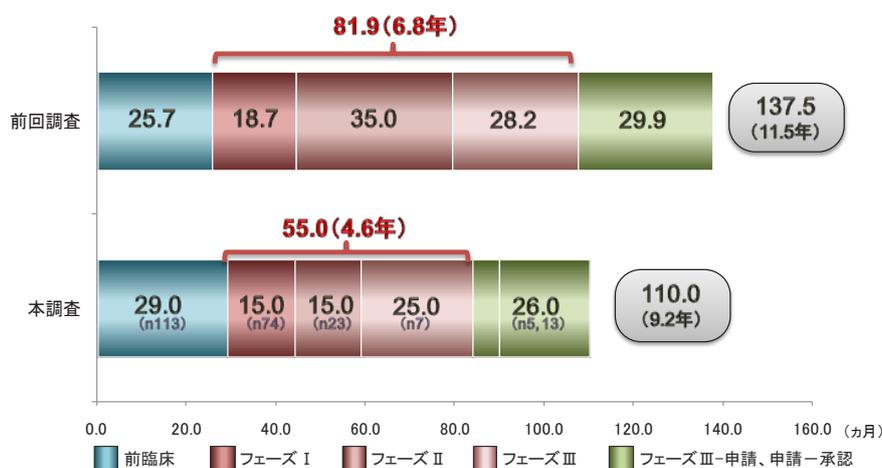
なっている。欧米の大手外資系企業に比べて内資系企業の方が、医薬品の開発に失敗した場合の開発コストが高くなっている可能性が考えられる。

## 第2節 先行研究との比較にみる医薬品の開発期間の変化

### 1. 国内における医薬品の開発期間の変化

次に、開発期間についても前回調査との比較でみてみよう。図6-3では、前回調査と本調査を対象に、フェーズごとに開発期間を中央値で示している。前臨床から承認までの開発期間は、前回調査の11.5年に対し本調査が9.2年であり、2年以上短縮している。前臨床の期間は3.3カ月延長しているものの、臨床試験及びフェーズⅢから承認までの期間は短縮しており、特にフェーズⅡ及びフェーズⅢの開発期間の比較では23.2ヶ月（1.9年）の短縮がみられる。治験コーディネーター（CRC）や治験施設支援機関（SMO）などの積極的な活用により、国内における治験の裾野がクリニックなどの規模の小さな医療機関にまで広がってきたことなどが、開発期間の短縮につながったものと考えられる。

図6-3 国内における開発ステージ別の開発期間（前回調査との比較：自社品目）



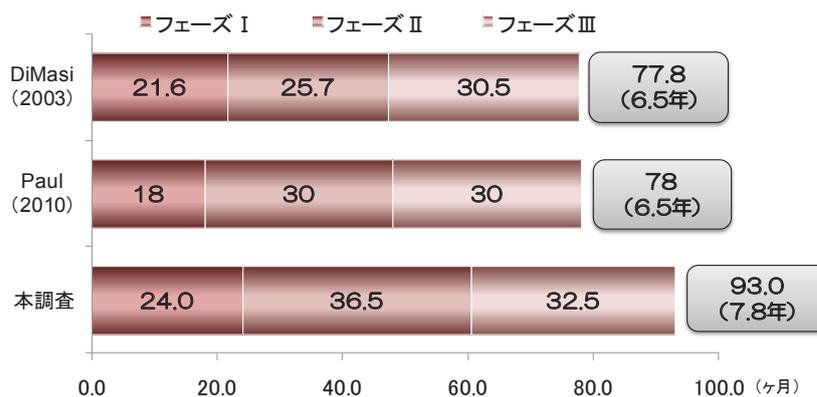
注1：図4-5に同じ。

## 2. 海外における医薬品の開発期間の変化

海外開発においては、成功確率と同様に DiMasi ら及び Paul らが主に欧米の大手外資系企業に対して行った調査結果を比較対象として、本調査の結果を考察した。

DiMasi ら及び Paul らについては、フェーズⅠからフェーズⅢの期間はいずれも 6.5 年であったが、本調査では 7.8 年と他の 2 つの報告に比して 1.3 年長い結果であった(図 6-4)。特にフェーズⅡの期間は、対 DiMasi らで 10.8 カ月、対 Paul らで 6.5 カ月長い結果であった。内資系企業においては、治験環境や市場の規模及び成長率などを踏まえ、大手に続く準大手も海外での開発を活発化させており、プルーフオブコンセプト (POC) 取得 (フェーズⅡ試験が一般的) までは自社で行う PJ が増加している。本調査でのフェーズⅡの期間が長くなっている要因として、POC 取得後の開発計画検討に時間を要している可能性が考えられる。

図 6-4 海外における開発ステージごとの開発期間 (先行研究との比較：自社品目)



注 1：フェーズⅠ/ⅡはフェーズⅡとして、フェーズⅡ/ⅢはフェーズⅢとして扱っている。

注 2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト (8PJ) は、集計から除外している。

注 3：図中の値は中央値で示している。

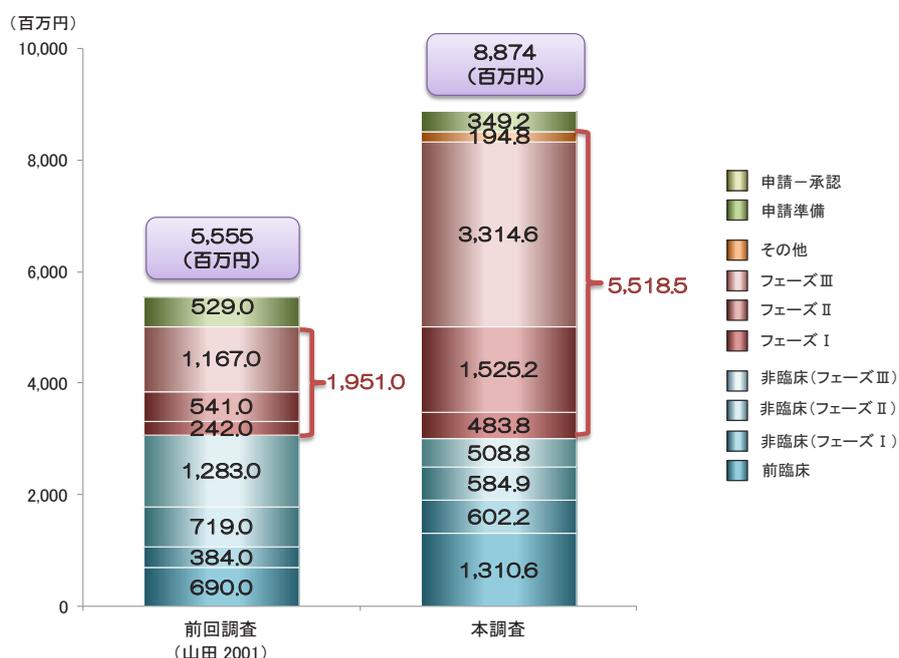
注 4：Paul らの報告については、年で示されている開発期間を月単位に換算した。

### 第3節 先行研究との比較にみる医薬品の開発コスト及び被験者数

#### 1. 国内における開発コストの変化

自社品目を対象として、国内における上市に成功した場合の開発コストの変化を、前回調査との比較でみたのが図 6-5 である。各開発ステージの比較において 1.6~2 倍近く増加している。

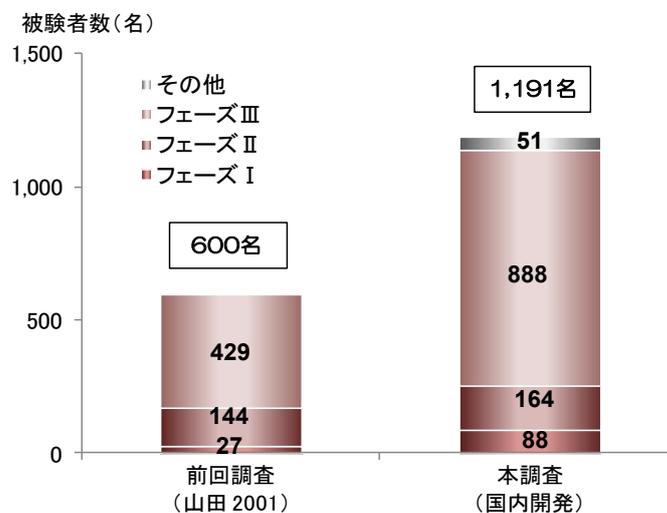
図 6-5 国内における上市に成功した場合の開発コスト（前回調査との比較：自社品目）



注1：図 5-5 に同じ。

被験者数は、前回調査の実施医療機関数及び 1 医療機関あたりの被験者数から推定される 600 名に対し本調査では 1,191 名と 2 倍近くに増加しており、この増加が上市に成功した場合の開発コストの上昇につながっているものと考えられる (図 6-6)。申請に必要な被験者数は対象疾病によって異なるが、調査対象としたプロジェクトの対象疾病の上位に大きな変化はない。したがって、既存薬との差別化を意図した試験や規制当局による長期の安全性試験実施の要求が、被験者数増加をもたらしたと解釈してよいであろう。

図 6-6 国内における開発ステージ別被験者数（前回調査との比較：自社品目）

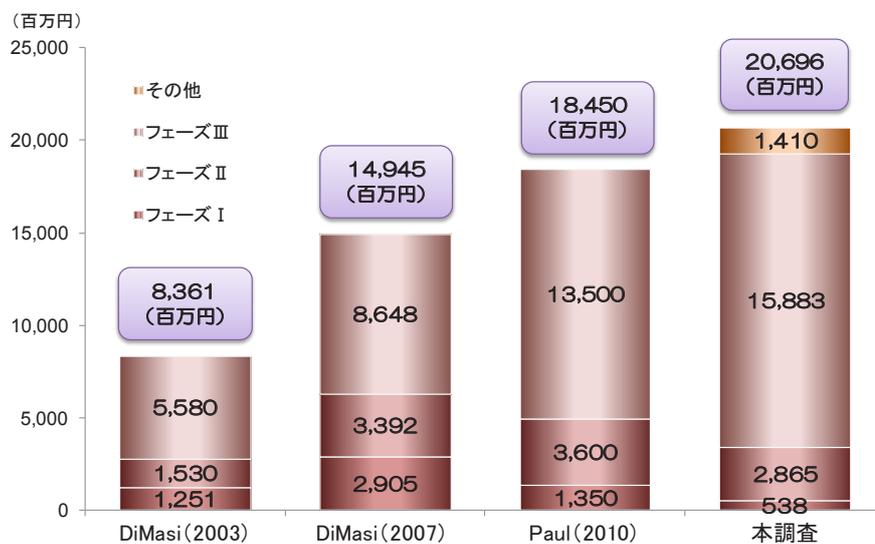


注 1：図 4-5 に同じ。

## 2. 海外における開発コストの変化

自社品目を対象として、海外における開発コストの変化を、先行研究との比較でみたのが図 6-7 である。先行研究 (DiMasi ら：2003) と比較すると、フェーズ I からフェーズ III の開発コストの合計額は、2 倍以上増加している。ただし、2010 年に発表された欧米の大手外資系企業を対象にした報告 (Paul ら：2010) と比較した場合、合計額の比較において大きな差はみられなかった。フェーズ III の開発コストが本調査の方が 20 億円以上高い結果であるが、これは、本調査の海外開発 PJ のほとんどが、市場での競争が激しく既存薬との差別化に膨大な被験者数を必要とする生活習慣病に分類される PJ であることが要因の 1 つとして考えられる。

図 6-7 海外における上市に成功した場合の開発コスト（先行研究との比較：自社品目）



注 1：図中の値は中央値で示している。

注 2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト（8PJ）は、集計から除外している。

注 3：フェーズ I から III に分類されない“その他”の試験のコストは、フェーズ III に含めて集計している。

注 4：DiMasi ら及び Paul らの報告については、1 ドル 90 円で換算した値で示している。

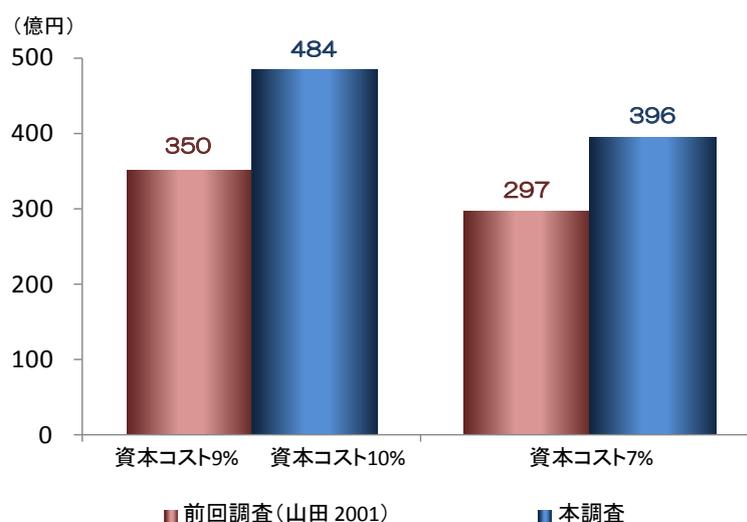
## 第4節 先行研究との比較にみる1新薬を上市するために必要な開発コスト

### 1. 国内において1新薬を上市するために必要な開発コストの変化

1新薬を上市するために必要な開発コスト（図6-8）は、前回調査の350億円（資本コスト9%、1995年価格）に対し、484億円（資本コスト10%、2008年価格）と大幅に上昇しており、資本コストを7%に統一して比較した場合においても同様に開発コストは上昇していた。成功確率が低いほど、開発期間が長いほど、また開発コストが高いほど、1新薬を上市するために必要な開発コストが高額となる。成功確率について、前臨床試験から承認に至る成功確率は、前回調査の0.13に比べて本調査では0.18と高値となっているが、フェーズⅡから申請の開発コストが高額となるステージの成功確率は低下している。本調査の開発期間は、前回調査に比べて2年以上の短縮がみられているものの、開発コストは、各開発ステージの比較において1.6~2倍近く増加しており、特にフェーズⅡ以降の開発後期の伸びが著しい。本調査の1新薬を上市するために必要な開発コストが前回調査に比べて高額となった要因として、開発後期の成功確率の低下と開発コストの上昇が主な要因として挙げられる。

なお、図には示していないが、本調査の1新薬を上市するために必要な開発コストについて、前回調査と同一条件の、資本コスト9%、1995年価格で推計した場合、GDPデフレーターの影響もあり、資本コスト10%、2008年価格で推計した484億円を上回る552億円となる。

図6-8 国内における1新薬を上市するために必要な開発コスト  
(前回調査との比較：前回調査;1995年価格、本調査;2008年価格)



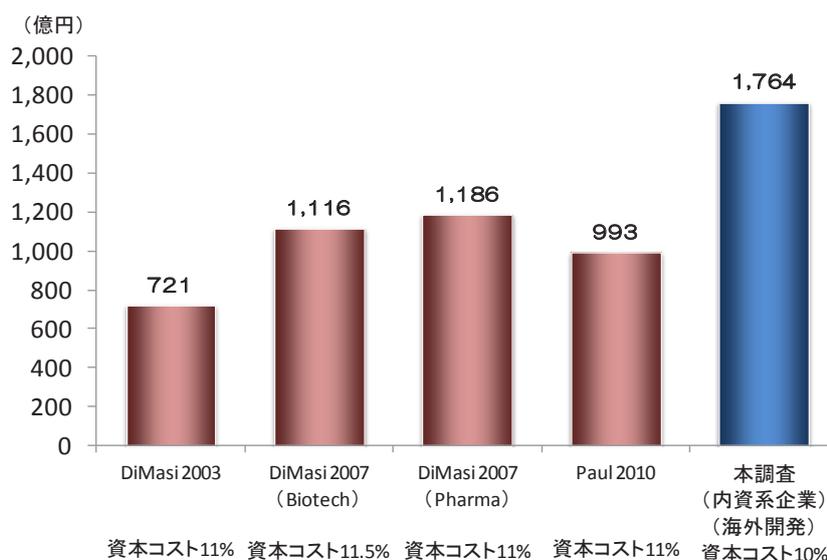
注1：図5-7に同じ。

## 2. 海外において1新薬を上市するために必要な開発コストの変化

海外開発コストを先行研究との比較でみたのが図6-9である。

それぞれ対象PJの実施年が異なるが、2003年の報告に比して2007年以降に報告された1新薬を上市するために必要な開発コストは上昇しており、いずれも1,000億円前後のコストが見積もられている。一方、本調査では1新薬を上市するために必要な開発コストを1,764億円と算出しており、先行研究(DiMasi及びPaulら)に比して1.5~1.8倍となっている。本調査の海外開発プロジェクトのほとんどが、生活習慣病に分類される品目を対象にしていることが主な要因と考えられる。加えて、先行研究(Paulら)に比して成功確率が低く(図6-2)、開発期間が長い(図6-4)ことも、先行研究に比して高額となった要因の1つと考えられる。

図6-9 海外における1新薬を上市するために必要な開発コスト  
(先行研究との比較：自社品目)



注1：図中の本調査の値は中央値で示している。

注2：希少疾病用医薬品の指定を受けたプロジェクト(8PJ)は、集計から除外している。

注3：「自社品目」及び「導入品目」において、フェーズⅠからⅢに分類されない“その他”の試験のコストは、フェーズⅢに含めて集計している。

注4：DiMasi及びPaulらの報告については、1ドル90円で換算した。

注5：DiMasiらの報告は、基礎研究費用も含む。Paulらの報告は、報告されているコストのうち前臨床試験以降のコストを合算した値で示している。

注6：DiMasiら(2003)の数値は2000年価格、DiMasiら(2007)の数値は2005年価格、本調査は2008年価格で示している。

## 第7章 結果をみる上での留意事項とまとめ

本稿では、内資系企業の開発プロジェクトを対象として、医薬品開発の成功確率や期間及びコストなどを分析した結果を示した。しかしながら、これら結果を解釈するには、以下に示す点に留意する必要がある。

第一に、国内開発と海外開発という区분이必ずしも明確に峻別できないという点である。本調査の対象期間である2000年以降は、国内申請データに海外臨床試験成績を使用することが可能になっており、国内で行う一部の臨床試験を海外臨床試験で代替できる。したがって、この場合、国内開発コストの一部が海外開発コストに移転されていることになる。また、1新薬を上市するために必要な開発コストは、実際に要する開発コストに加え、成功確率の影響を受けるが、国内開発の成功確率は、海外で開発を先行させることにより高くでていると推察される。以上の2つの要因の結果、国内開発コストが低く抑えられている可能性は否定できない。

第二に、本調査で定義する開発コストの対象についてである。本調査の対象は、前臨床試験から承認までに要した開発コストであり、前臨床試験に入る前に行われる基礎研究費や、承認後に実施される市販後調査や試験などのコストが、また、導入口目については、導入する際に支払う一時金が含まれていない。研究開発費に占める基礎研究費の割合は、2000～2008年の平均で27.9%を占めているとする調査もあり<sup>18</sup>、研究開発費に占める割合は小さくない。しかしながら、基礎研究は創薬に必要な基盤技術の開発や複数の候補物質の効果の探索などを目的として行われるため、開発プロジェクトごとに分けることは困難であり、今回対象とした開発コストには含めていない。また、国内開発においては、市販後に全ての使用患者のデータを収集する全例調査や市販後に行う臨床試験を承認条件として付される医薬品が増加しており<sup>19</sup>、市販後に行われる調査や試験コストの高騰が指摘されている。なお、導入口目については、新たな創薬技術に基づくバイオ医薬品など導入口目の位置付けが高まる中<sup>20</sup>、導入一時金の高騰が指摘されており、臨床試験のステージに進んだ品目では100億円を超えるケースもめずらしくない。この一時金を開発コストに含

<sup>18</sup> 日本製薬工業協会が実施した活動概況調査をベースに、本調査の対象とした25社の研究開発費を基礎研究費、応用研究費及び開発研究費に分類した場合、全体に占める割合はそれぞれ基礎研究費が27.9%、応用研究費が25.6%、開発研究費が46.5%となる。この結果及び科学技術研究調査の結果(平成21年)を単純に外挿して推計した場合、基礎研究費を含めた1新薬を上市するために必要な開発コストは、およそ600～670億円となる。なお、基礎研究は以下のように定義している。また、開発研究には市販後調査費用が含まれる。

・基礎研究：種々の新しい物質(化合物)を創製し、その構造、物性などを決定し、その新規物質を生物に適用して効果の探索を行う(スクリーニング)研究

<sup>19</sup> 医薬産業政策研究所。「承認条件としての市販後臨床研究—2000～2005年承認取得品目に関する調査—」リサーチペーパー・シリーズ No.23 (2006年8月)

医薬産業政策研究所。「全例調査品目のプロファイル」政策研ニュース No.27 (2009年3月)

<sup>20</sup> 医薬産業政策研究所。「増加する海外ベンチャーとのアライアンス」政策研ニュース No.29 (2010年1月)

めると、自社品目と導入品目の間に本調査で得られたほどの差はないものと考えられる。

第三に、資本コストの水準が開発コスト全体に及ぼす影響についてである。医薬品の開発は不確実性が高く、また10年前後の期間を要するため、1新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コストの概念を用いて推計している。自社品目の国内開発において、1新薬を上市するために必要な開発コストは、図4-10で示した通り資本コスト10%で484億円、7%で396億円と、資本コストの前提により異なってくる。

医薬品開発の成功確率や期間及びコストなど、医薬品開発の実態に関する調査は、海外では、米国研究製薬工業協会（PhRMA）の加盟企業を対象として2000年以降も行われている。しかしながら、我が国においては、1990年代の開発プロジェクトを対象とした前回調査以降、継続して行われておらず、2000年以降の開発プロジェクトを対象とした調査は本調査が初めてである。

今回の調査において、国内における1新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト10%、2008年価格の場合で484億円、前回調査と同じ条件で552億円（資本コスト9%、1995年価格）と、前回調査の350億円に比べて大幅に上昇していることが明らかとなった。開発期間は、前回調査に比べて2年以上短縮しているものの、主として被験者数の増加の影響で開発コストが上昇したのと考えられる。なお、今回の調査では開発コストの対象に含めていない基礎研究費、市販後調査や試験などのコスト及び導入一時金を考慮すると、1新薬を上市するために必要な開発コストは、さらに大きくなっているものと推察される。

最近では、内資系企業も、米国を中心とした先進国市場だけでなく、成長が続く新興国市場を求めて活動の場を世界的に拡大している。市場のグローバル化は臨床開発のグローバル化を意味し、内資系企業も欧米の主要製薬企業と同様に、多地域国際共同治験（multi-regional study）の実施が必須となっている。今回の調査で明らかのように、国内開発コストに比べて海外開発コストは大きく<sup>21</sup>、海外における1新薬を上市するために必要な開発コストは、資本コスト10%の場合で1,764億円と国内開発の3.6倍に達する。欧米の大手外資系企業を対象とした過去の調査において、1新薬を上市するために必要な開発コストは1,000億円程度と報告されてきたが、本調査で得られた海外開発コストは高額となっている。欧米の大手外資系企業を対象とした先行研究の報告に比して開発コストが高額となった主要因として、本調査の海外PJの対象疾病のほとんどが、市場での競争が

---

<sup>21</sup> DiMasi, J.A. et al. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics* 2003; 22: 151-185.

Tufts University. Tufts Center for the Study of Drug Development “Impact REPORT”

DiMasiらの報告（2003）では、基礎研究費を含めた1新薬を上市するために必要な開発コストは8億ドル（2000年価格、1ドル90円換算で720億円）と推計されているが、これはグローバル開発のコストを含めた海外開発コストの値である。また、国内では、市販後に多くの調査や臨床試験を行うが、海外では、これらに該当する試験を申請前に臨床試験として行う場合が多い。そのため、海外開発コストには、国内で市販後に行われる調査や試験の一部のコストが含まれているものと考えられる。

激しく既存薬との差別化に膨大な被験者数を必要とする生活習慣病に分類されるものであったことが挙げられる。また、欧米の大手外資系企業との差で考えた場合、臨床試験の実施場所の違いが挙げられる。図 3-4 で示した通り、本調査の海外開発は、日米欧の先進国で行われたプロジェクトが全体の 80% 近くを占めており、開発コストが相対的に安価とされる新興国の比率が低く、内資系企業の海外開発コストが高額となっている要因の 1 つと考えられる。

また、企業の視点で国内及び海外開発コストをみた場合、内資系企業の開発コストは、国内及び海外開発コストを合算した値に近い可能性が考えられる。一部の大手内資系企業は、欧米の大手外資系企業と同様に日米欧同時申請を目指したグローバル開発を目指しているものの、今回の調査対象時点では、内資系企業の多くが、日本と欧米への申請のための開発 PJ を別々に進めていたことが明らかとなっている。

本調査結果を先行研究結果との比較でみた場合、国内及び海外開発いずれにおいても、1 新薬を上市するために必要な開発コストは高騰していることがわかる。最近、OHE (Office of Health Economics) より、主に欧米大手外資系企業を対象とした医薬品の開発コスト等を調査した複数の報告を基に、医薬品の開発コストの変化を比較検討した結果が報告されているが<sup>22</sup>、この報告からも、近年、開発コストが上昇していることが明らかとなっている。このような状況の中、製薬企業は、医薬品開発の生産性向上に向けてグローバルな視点で先行開発地域を選択することはもとより、医薬品の安全性や有効性の予測性を高めるバイオマーカーの開発などの取り組みを活発化させてきている。特に開発コスト高騰に大きく影響する開発後期中止するプロジェクトを減少させることは、製薬企業にとって喫緊の課題となっている。しかしながら、国内におけるフェーズ II 以降の開発後期の成功確率は、図 6-1 で示した通り 1990 年代に比べて 2000 年代ではむしろ低下している。フェーズ II 以降で中止したプロジェクトの中止理由は、安全性や有効性の問題で中止するプロジェクトに加え、既存薬に対する優位性の問題で中止するプロジェクトが一定の割合を占める<sup>23</sup>。安全性及び有効性が示されただけでは承認を取得することは難しく、また、既存薬に対する優位性を示さなければ市場の獲得が困難になっていることがその背景にあるものと考えられる。最近、がんや自己免疫疾患などのスペシャリティ領域での開発が活発化しているが、この動きはアンメット・メディカル・ニーズの充足に加え、既存薬との競合の少ない領域での開発を活発化させようとする製薬企業の戦略を映したものと捉えることができる。

医薬品開発を取り巻く環境が厳しさを増す中、製薬企業は、患者が必要とする医薬品を継続的に供給していくためにも、医薬品開発の生産性を高める努力を続けていかなければならない。

<sup>22</sup> Jorge Mestre-Ferrandiz, Jon Sussex, Adrian Towse. The R&D Cost of a New Medicine. Office of Health Economics December 2012

<sup>23</sup> 医薬産業政策研究所。「医薬品の開発中止理由—アンケートによる実態調査—」政策研ニュース No.30 (2010 年 4 月)