



癌、治癒への模索 新薬から新しい希望が

癌 は死因の第2位を占めている。今年だけでも約55万6,500人の米国人が癌で亡くなるであろうと予測されている。¹ 癌患者の寿命を延ばし生活を改善させるために、研究者達は、癌の治療薬の研究に没頭している。近年、製薬会社とバイオ企業は新しいアプローチを取り入れて、次のような最先端の癌治療薬を患者に提供している。

- 急性骨髄性白血病を治療するモノクローナル抗体。急性骨髄性白血病の治療薬として初めて認可を受けた。
- 肺癌治療薬。肺の癌細胞に増殖シグナルを送る酵素を阻害する。
- 慢性骨髄性白血病の治療薬。癌細胞の増殖を引き起こす化学的シグナルを遮断する画期的な薬品

過去25年の間、新薬の発見から市場に出るまでのプロセスは進化を遂げてきた。一方、癌のような複雑な疾患を治療する治療薬に開発の目が向けられるようになってきた。さらに、臨床試験が長期化し、有望と見なされた治療法が臨床試験で失敗する確率が高くなってきた。こうしたことから、新薬開発までの道のりは厳しく、また、開発コストも高騰してきた。

厳しいR&Dの課題

複雑な標的疾患

近年、科学の進歩により、多くの癌の正体が明らかになった。一方で、安全で有効な薬物療法を発見、開発するという観点から、癌のような複雑な病気を治療する薬の開発には、より時間がかかるようになり、また、その効果を評価するのは、時として困難な場合が多い。

臨床試験の長期化

技術の進歩により、薬の効果をより理解することができるようになった。また、技術が進歩した結果、潜在患者のもつユニークなニーズが引き出され、認識されるようになった。こうした理由により、将来有望とされる治療薬を評価するには、より綿密な臨床試験を行う必要が出てきた。その結果、臨床試験が長期化した。² また、開発企業は、規制により、益々複雑なデータや統計的に有意義な臨床データを用意する必要が出てきた。

経費の増加

新薬の開発プロセスが長期化し複雑化するにつれて、当然ながらR&Dに要する経費も増加している。米食品医薬品局は、より大規模な（従って、より長期化する）臨床試験を要求するようになった。このことも一因し、新薬の研究、開発、導入に必要とされる経費は、わずか15年前と比較し、3.5倍近くも高騰した。最近の研究によると、新薬を開発し、市場に投入するまでに必要とされる経費は平均で、1975年に1剤あたり1億3,800万ドルであったのに対し、2000年には8億ドルを上回った。³

高い失敗率

経済学者は、新薬の開発（研究段階からFDAの認可まで）に10～15年かかると推定している。⁴ 薬学研究者はサイエンスの開拓者であるが故に、成功することよりも失敗することの方が多。新薬として承認されるのは、スクリーンにかけられる5,000種類の化合物のうちわずか1種類のみである。⁵ また、最終的に認可に至った化合物でも、10種類のうち7種類の化合物は、薬品開発に要した経費負担額を回収するだけの収益を生み出していない。⁶



数字が示す事実

- ・ 米国では今年の癌による死亡者数を**55万6,500人**と予測
- ・ 癌治療向けに**395種類**の薬品が開発段階にある
- ・ 1剤を市場投入するためにかかる費用は平均**8億200万ドル**
- ・ 米国研究製薬工業協会 (PhRMA) 会員企業2002年R&D投資額は推定**320億ドル**
- ・ 審査対象となる**5,000~10,000種**の化合物のうち、新薬として認可されるのは**わずか1種**
- ・ 新薬が市場で発売されるまでに平均**10~15年**を要する
- ・ 市場投入された薬品**10種のうち7種**は、薬品開発に要した平均自己負担額を上回る収益を生み出していない

未来への希望

製薬研究志向の企業はより多くの投資をR&Dに投入している。

米国の研究開発型の製薬企業は、10年前に115億ドルをR&Dに投資した。しかし2002年には320億ドルが投資されたと推定されている。⁷ 320億ドルという投資額は米国立衛生研究所 (NIH) の運営予算の総額を上回る。⁸ 研究開発に費やされた投資額の一部は、何百種類もの癌治療薬の開発に投じられた。開発中の薬品の多くは、癌という致死な病気と闘うために新しい技術とアプローチを使用している。開発段階の薬品には以下のようなものがある。

- ・ 膵臓癌の治療薬。癌細胞に増殖シグナルを送る経路を遮断する薬。
- ・ 肺癌治療薬。細胞の異常増殖を誘発する蛋白質の生産を阻害するように設計された薬品
- ・ サソリ由来の物質の合成物を脳の腫瘍細胞に直接運搬する薬品
- ・ メラノーマに対し、強力な免疫反応を引き起こすように設計された薬品

新薬開発のためのR&Dが強化されたことにより、患者は、普通の生活を送るために必要な新しい、より効果的な治療薬を得ることができるようになった。

ワシントンポスト紙は、最近の記事のなかで、癌は「喘息や糖尿病、そして最近ではエイズと同じように慢性病へと変貌していった」と報道している。これも、研究開発志向の企業が開発した癌の新しい診断法と治療法のおかげである。⁹

ワシントンポスト紙によると、「現在、推定900万人の米国人が癌を克服しており、その数は1990年代の600万人から増加している」という。5年生存率は過去20年間に10パーセントポイント上昇し、現在では62%だ。新薬開発を支える次のような政策的な環境が維持される限り、こうした傾向が続くという楽観的な見方がある。

- ・ 新薬 (特に、市場投入までの平均コストを上回る収益をあげられない10種のうち7種の薬品) のR&Dに関し、R&Dの継続に必要な特許奨励策を維持する¹⁰
- ・ メディケアを通じて処方薬を給付するなど、競争市場を通じて患者が薬品にアクセスできるようにする
- ・ 革新を阻害し、新薬に対する患者のアクセスを困難にする新たな価格統制を避ける
- ・ 患者の生命を救う、苦痛を軽減する、生活の質を向上させる、侵襲的で高額な他の治療法に対するニーズを減少させることによって、処方薬が保健医療制度において果たす貴重な役割を認識すること ■

1 米国癌学会 (ACS)、Cancer Facts & Figures 2003 (ジョージア州アトランタ: ACS, 2003年)
2 J. A. ディマシ、「米国における新薬開発1963~1999年」、Clinical Pharmacology & Therapeutics 69 (2001年5月): 5, 286-96
3 2000年基準ドルで報告された数字。J. A. ディマシ、R. W. ハンセン、H. G. グラボウスキー、「革新にかかる費用: 薬剤開発費に対する新評価」、Journal of Health Economics 22 (2003年): 151-185
4 米国研究製薬工業協会、タフツ大学医薬品開発研究センターによるデータに基づく (1995年)
5 同上
6 H. グラボウスキー、J. パーノン、J. ディマシ、「1990年代に新薬導入のためのR&Dが生み出した収益」、Pharmacoeconomics 20 (2002年): 補足3, 11-29
7 米国研究製薬工業協会 (PhRMA)、PhRMA Annual Membership Survey 2003
8 米国立衛生研究所 (NIH)、「法案 予算体系」
<<http://www4.od.nih.gov/officeofbudget/CJ2003/Mechanism%20-%20Total%20Proposed%20Law.pdf>> (2003年1月21日)
9 ロブ・スタイン、「殺人病から慢性病へ: 薬品が癌を再定義」、The Washington Post, 2003年1月29日
10 H. グラボウスキー、J. パーノン、J. ディマシ、前掲書中