

# バイオ医薬品のイノベーションを取り巻く現在の環境 医薬品開発動向とイノベーションの価値

30<sup>th</sup>  
anniversary  
1976-2006

Tufts Center for the Study of Drug Development

ケネス・ケイティン  
タフツ大学医薬品開発研究センター ディレクター

「患者にとっての価値 - イノベーション創出のチャレンジ」  
2007年9月26日 東京

# 議題

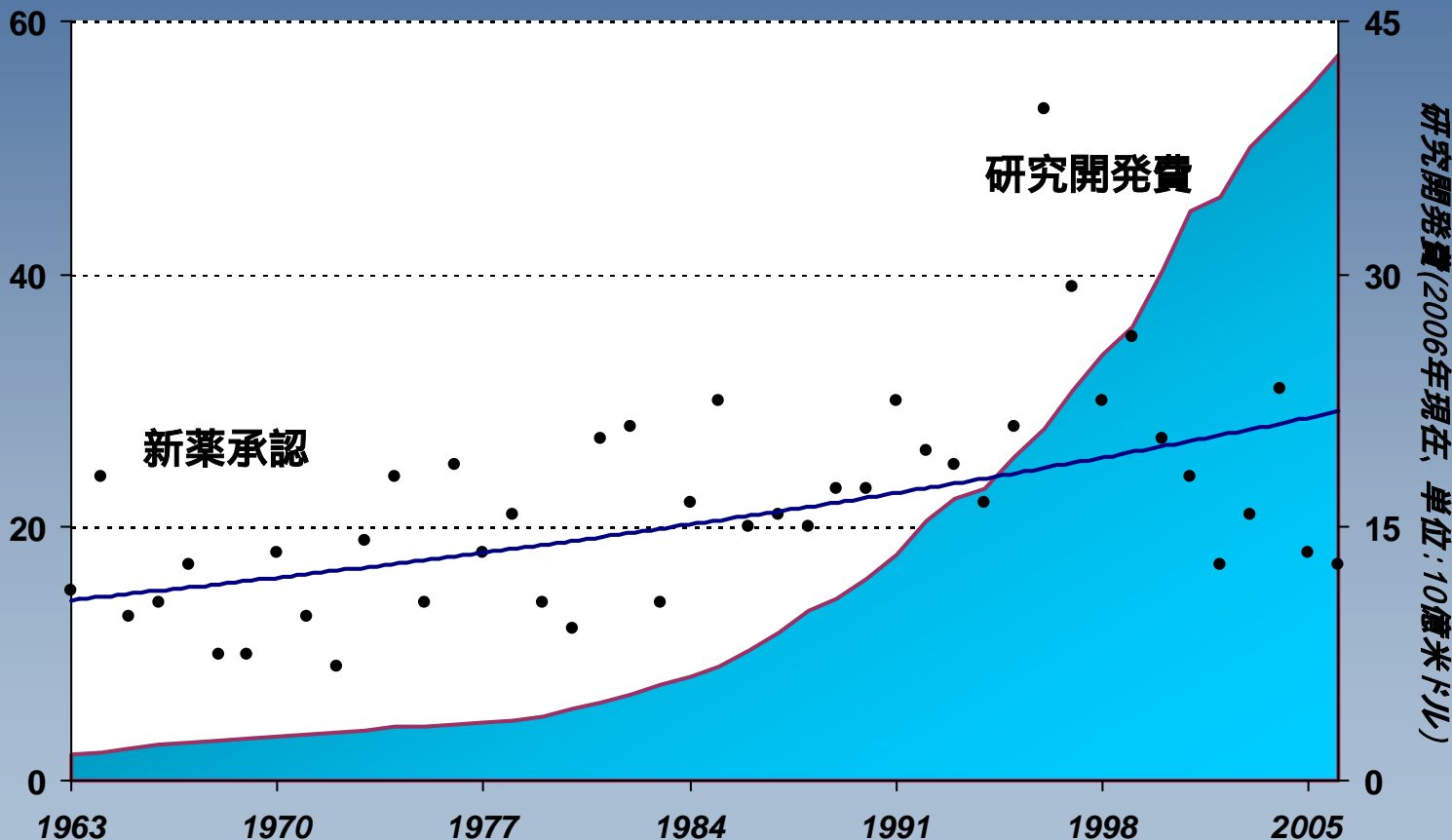
- ◆ イノベーションを取り巻く環境
- ◆ 医薬品開発のメトリックス
- ◆ 政府主導によるイノベーションの促進
- ◆ イノベーションの価値
- ◆ 結論

イノベーションを取り巻く環境

# 医薬品開発者を取り巻く現状

- ◆ 長期に及び、リスクが高く、高額で複雑な医薬品開発プロセス
- ◆ 業界の厳しい規制
- ◆ 競争が激しく、多様化した市場
- ◆ 大幅に短縮された独占販売期間
- ◆ 公的支援の低下

# 研究開発費の増加に見合わない新薬承認



研究開発費(インフレ調整済み)

出典: Tufts CSDD Approved NCE Database, PhRMA, 2007

現在の、新薬およびバイオ医薬品開発のメトリックス

# 長期間におよぶ、高リスクで高額な 新薬開発とバイオ医薬品開発

製品分類	臨床試験開始 から承認まで	承認率	新薬1種当たりの 資産化費用
小分子化合物	7.5 年	21.5%	13億米ドル*
バイオ医薬品	8.0 年	30.2%	12億米ドル*

\* 資産化費用には、試行錯誤に伴った費用や機会費用も含まれる (2005年時点、単位:米ドル)

# 研究開発費の増加要因

- ◆ 高額な研究開発ツール
- ◆ 慢性の複合した適応症
- ◆ 臨床試験の規模
- ◆ 被験者の募集と維持
- ◆ 法的な規制
- ◆ 市場競争



# 政府支援によるイノベーションの促進

# 停滞からイノベーションへ： FDAによるクリティカルパス・イニシアチブ

「クリティカルパス・イニシアチブとは、ヒト用医薬品、生物製剤や医療機器の候補が、発見や“概念の実証”段階から医薬品へと変わる科学的プロセスを改革するための国家的取り組みを、刺激・促進する FDAの活動です」

“Innovation or Stagnation? – Challenge and Opportunity on the Critical Path to New Medical Products.” (March 2004)

# 産官コンソーシアム

- バイオマーカー・コンソーシアム – 新規分析方法の開発に向け、前糖尿病、糖尿病、うつ病のバイオマーカー開発に取り組む
- 安全性予測試験コンソーシアム – 前臨床試験で行う安全性バイオマーカーの相互確認の為、データを交換する
- 重篤有害事象コンソーシアム – 肝疾患や重度の発疹を始め、薬剤誘発性の反応リスクを予測する一助となり得る遺伝的変異の特定および確認

**「21世紀の展望は、適切な成果を得るために、適切な人に適切な治療法を適切な時期に提供することです」**

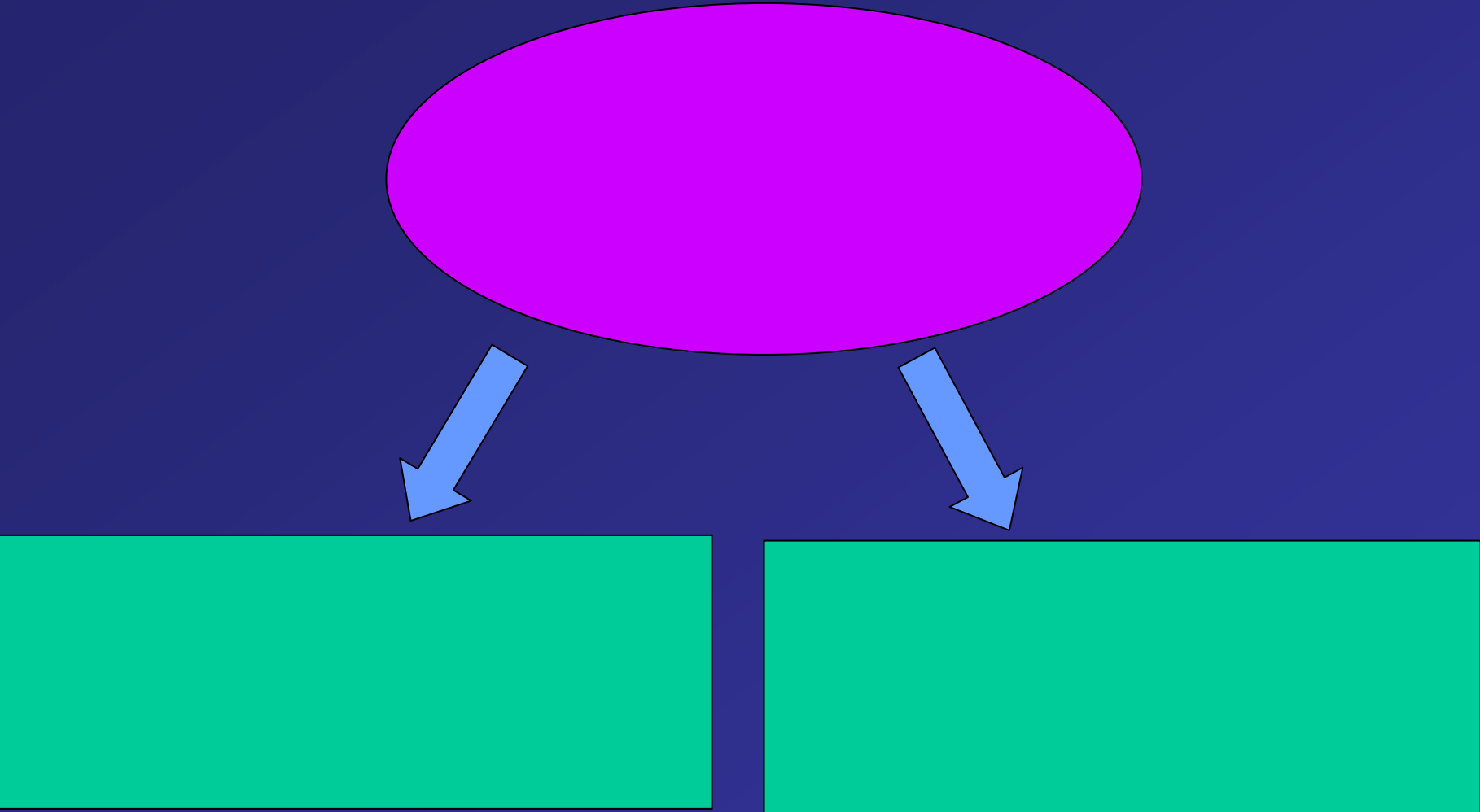
**アンドリュー・フォン・エッセンバッハ**  
FDA長官

# 層別医薬品/オーダーメイド医薬品がもたらす 研究開発戦略と事業戦略の大きな変化

- ◆ バイオマーカーへの依存度増大
- ◆ 臨床効果と安全性確認の、臨床試験第 相への依存度増大
- ◆ 臨床開発における新パラダイムの出現 (第 相から第 相までの区別の陳腐化)
- ◆ プロジェクト管理、事業、製造における新たなモデル
- ◆ 診断薬・機器会社とのパートナーシップ増加
- ◆ 新しい規制の枠組み
- ◆ 医療財政制度に対するチャレンジ

# 改良新薬開発の経済性

# イノベーション



```
graph TD; A([イノベーション]) --> B[画期的治療  
ファースト・イン・クラス新薬]; A --> C[改善のつみかさねと  
改良新薬]
```

画期的治療  
ファースト・イン・クラス新薬

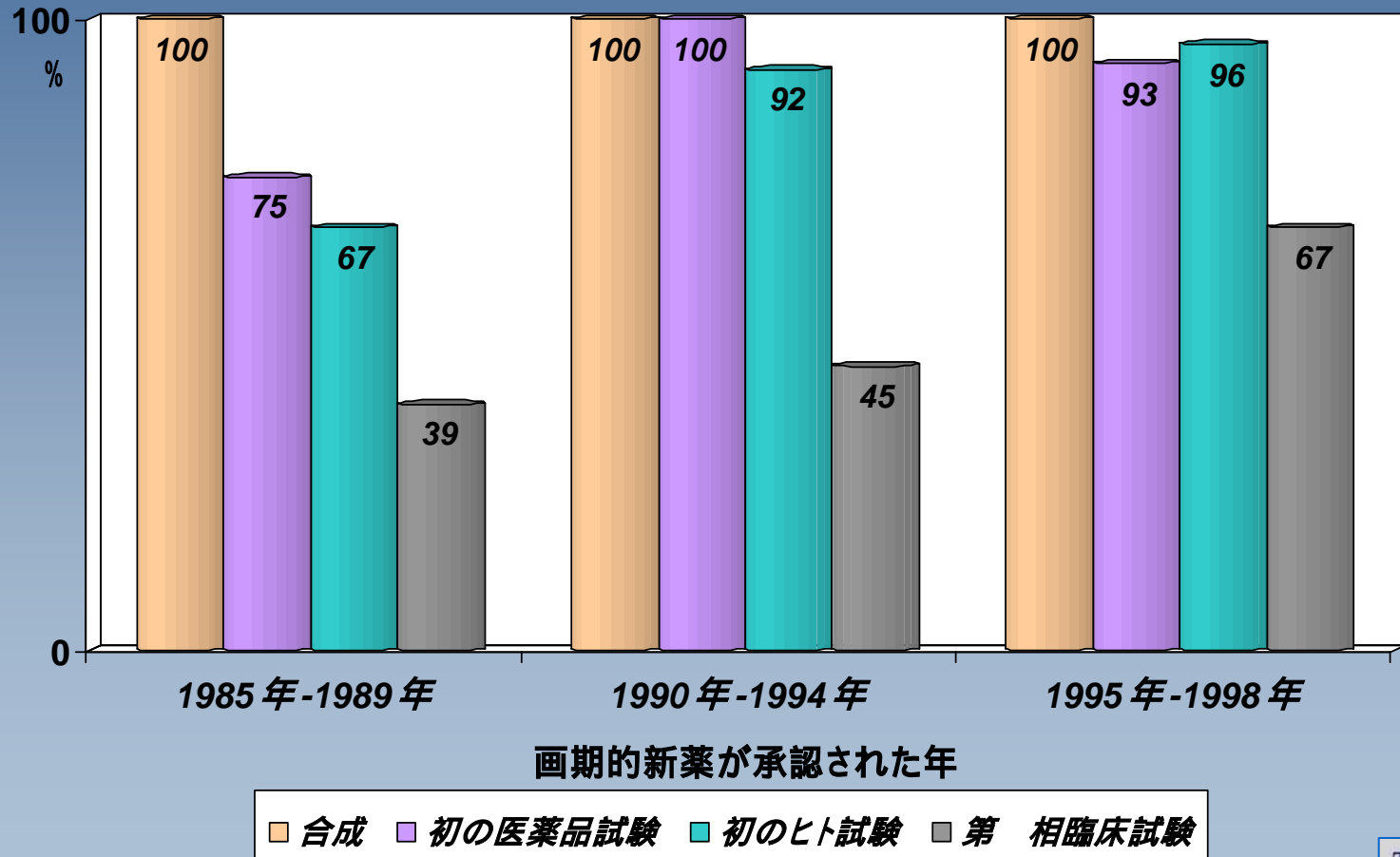
改善のつみかさねと  
改良新薬

# 「類似」医薬品に関する検討課題

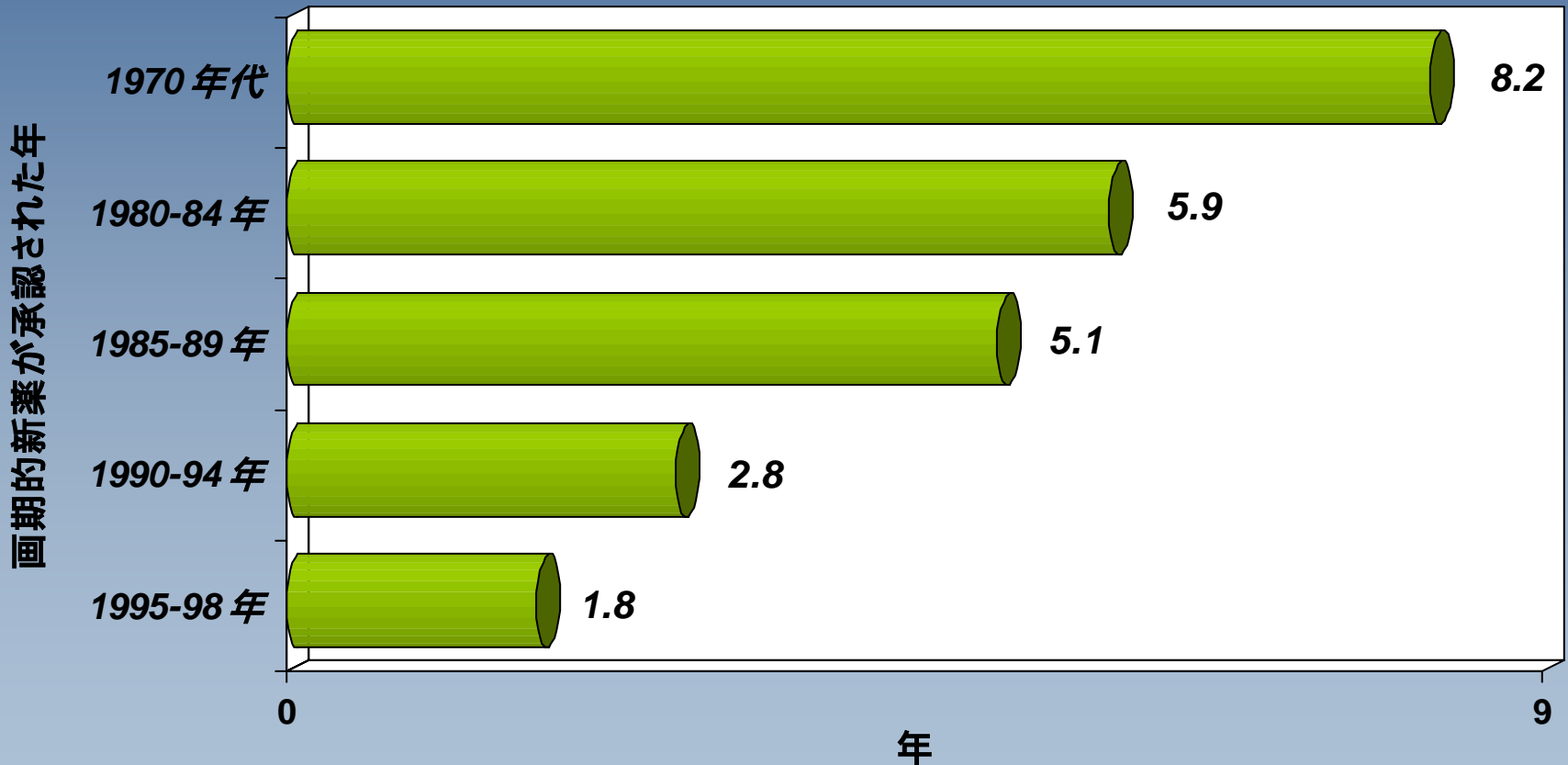
- ◆ 改良新薬は薬価を上昇、あるいは低下させるのか
- ◆ 改良新薬は、重複研究および事後研究(継承的開発)の結果なのか、それとも主として複数の企業による臨床の進歩を巡る競争(平行開発)の結果なのか
- ◆ 改良新薬は完全な代替品なのか、それとも多様な製品プロファイルや様々な反応の中から、識別化された製品や選択肢を提供しているのか
- ◆ ファースト・イン・クラスというのはベスト・イン・クラスなのか
- ◆ 改良新薬の安全性は低いのか

タフツ大学医薬品開発研究センターは、改良新薬の開発タイムラインおよび承認日と、画期的新薬に関する、72種のクラスおよび承認307件を調査した。

# 画期的新薬の承認時に一定の成果を上げている 改良新薬の割合



# 低下する画期的新薬の独占販売権： 最初の改良新薬の承認までの平均期間



出典: DiMasi, Paquette, Pharmacoeconomics 2004;22(Suppl 2):1-14

# 治療の選択肢: 安全性、薬効、利便性のトレードオフ

- ◆ 例: 多発性硬化症治療薬のインターフェロン製剤(Betaseron<sup>®</sup>, Avonex<sup>®</sup>, Rebif<sup>®</sup>)
- ◆ 再発率、注射部位の反応、肝機能検査の値の上昇、白血球減少(症)、中和抗体の生成スピード、注射の頻度によって、治療は異なる
- ◆ 治療成果の多様性は、各患者が医師に相談のうえ決定することができる選択肢を提供する



Tufts Center for the Study of Drug Development

TUFTS UNIVERSITY

# Impact REPORT

ANALYSIS AND INSIGHT INTO CRITICAL DRUG DEVELOPMENT ISSUES

タフツ大学医薬品開発研究センター「インパクトレポート」

## Follow-on drugs and indications play key role for World Health Organization

*More than 60% of drugs on Essential Drug List are follow-on drugs*

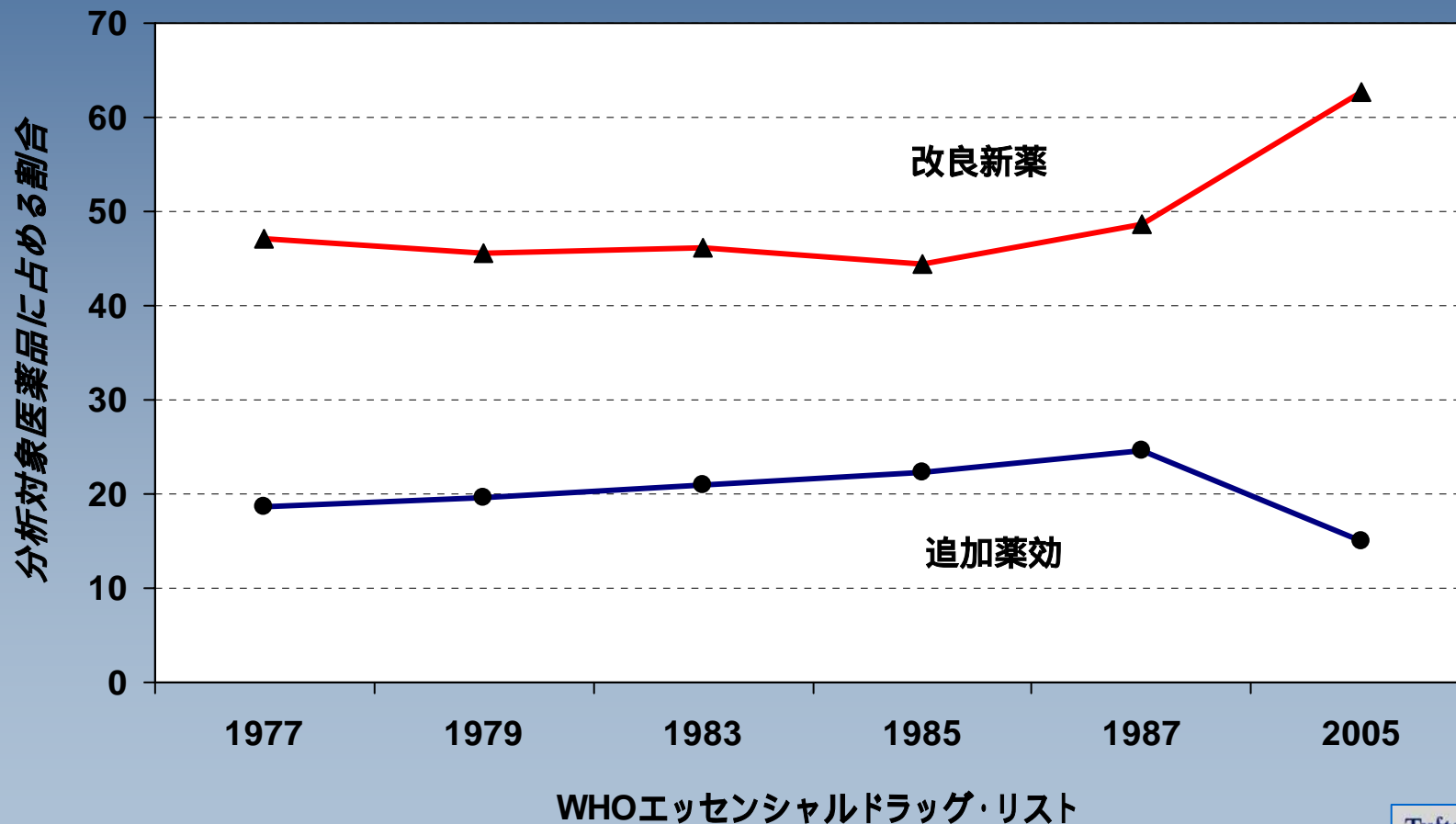
改良新薬とその薬効は、世界保健機関(WHO)にとって重要な役割を果たしている

WHOエッセンシャルドラッグ・リストの60%強が改良新薬である

- Of 240 drugs on the Essential Drug List (EDL) of the World Health Organization (WHO) today, 63% are follow-on drugs, 49% of which received a priority rating from the U.S. Food and Drug Administration (FDA).
- More than 90% of medicines on the EDL are off-patent, low cost drugs.
- While follow-on drugs as a share of drugs on the EDL increased from 47% to 63% since 1977, the share of follow-on indications fell from 19% to 15%.
- The number of follow-on drugs in each WHO-defined category appears to be a function of the category's age: the older the category, the more follow-on drugs it includes.

**D**ebate over the value of follow-on drugs and indications continues. Critics suggest that many follow-on drugs and indications offer little or no benefit to patients. Advocates counter that these often offer significant advantages, in terms of improved effectiveness, compliance, and patient satisfaction. To inform the dis-

# WHOエッセンシャルドラッグ・リストの 63%を占める改良新薬



# 要約

- ◆ 改良新薬は、薬価引き下げにつながる競争を生み出している
- ◆ 改良新薬の開発は、画期的医薬品の開発と同時に行われることが多い
- ◆ 画期的新薬の独占販売期間は短縮しており、価格競争を早めている
- ◆ 改良新薬は、オーダーメイド治療を可能にし、安全性 / 効能 / 利便性を高めることで、治療上のメリットを提供している
- ◆ 改良新薬の方が危険性が高いとはいえない

# 結論

# 結論

- ◆ 研究開発費が増加し、コスト削減圧力が強まるなか、研究開発志向型製薬会社は革新的な新薬に対する需要を満たす必要がある。
- ◆ 政府は、医療費を抑えつつ、患者が新薬を入手できるよう図る一方で、革新的医薬品に対してインセンティブを与えるような環境を構築する必要がある
- ◆ イノベーションの積みかさねは、医療において、治療面および経済面で、重要な価値をもたらす

ケネス・ケイティン  
タフツ大学(マサチューセッツ州ボストン)医学部准教授  
同大学医薬品開発研究センター ディレクター

ウェブサイト  
<http://csdd.tufts.edu>

Eメール  
[kenneth.kaitin@tufts.edu](mailto:kenneth.kaitin@tufts.edu)

30<sup>th</sup>  
anniversary  
1976–2006

Tufts Center for the Study of Drug Development

Tufts University  
Drug Development Analysis and Insight