

これからの医療

分子テクノロジーの役割と官民連携

ロバート・N・マクバーニー(**Ph.D.**)

*BG Medicine*社

研究開発部門副社長・最高学術責任者

米国マサチューセッツ州ウォルサム市

これからの医療：検討課題

- ❑ 医療の問題点：国民、政府、業界
- ❑ ヒト分子生物学への理解がソリューションの鍵
- ❑ 医療と薬剤開発におけるバイオマーカーの役割
- ❑ 官民連携と医療のソリューション
- ❑ 患者会の役割
- ❑ 疾患に焦点をあてて組織された米国諸団体の新たなビジネスモデル
- ❑ イノベーションの重要性

公共問題

□ 個々の市民

- ❖ 「医師から処方してもらった承認薬が、全然効かなかった」
- ❖ 「薬で症状はましになるが、ひどい副作用も起きる」
- ❖ 「私の症状を軽減できる唯一の薬が死亡の原因になった可能性があるという話を聞いて、心配している」
- ❖ 「経済的な問題で必要な薬が買えない」

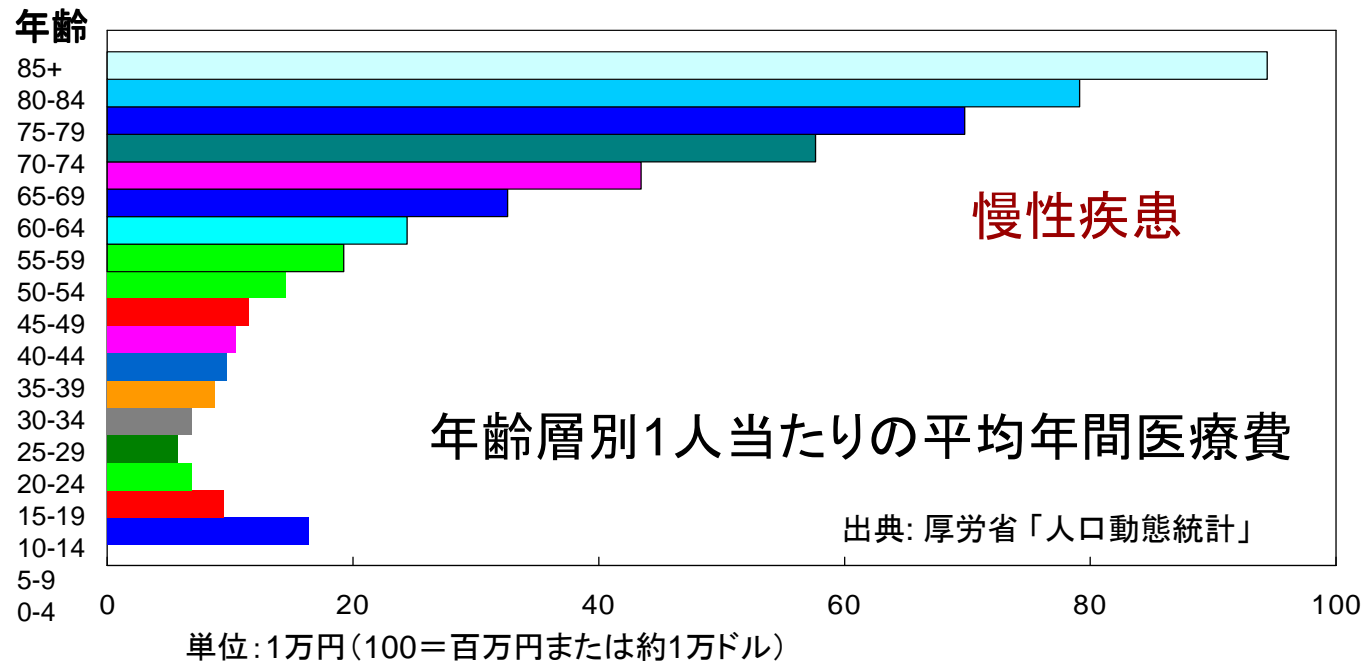
□ 政府と第三者支払機関（健康保険機関）

- ❖ 医療支出が飛躍的に増大している
- ❖ GDPに甚大な経済的影響を及ぼしている
- ❖ 高齢者層の罹る慢性疾患が増えている
 - ❖ 例：タイプ2糖尿病およびアルツハイマー病

公共問題：高齢者層

高齢者層は若年層より医療費が多い

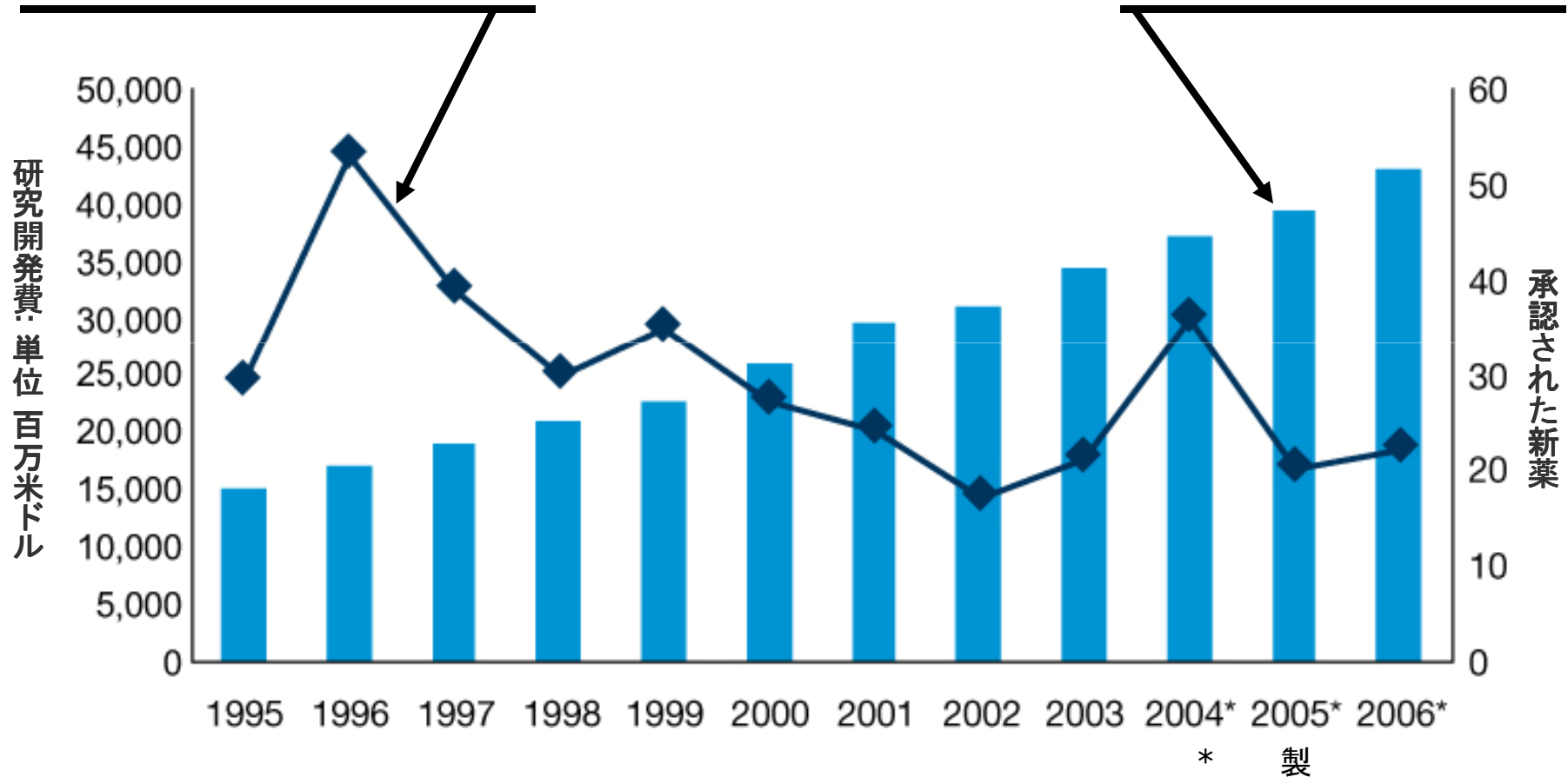
- 世界的な問題 – 米国は今後25年間に深刻な状況に陥る
- 日本の例



慢性疾患の治療法を開発するためにはイノベーションが必要不可欠

製薬業界が抱える問題

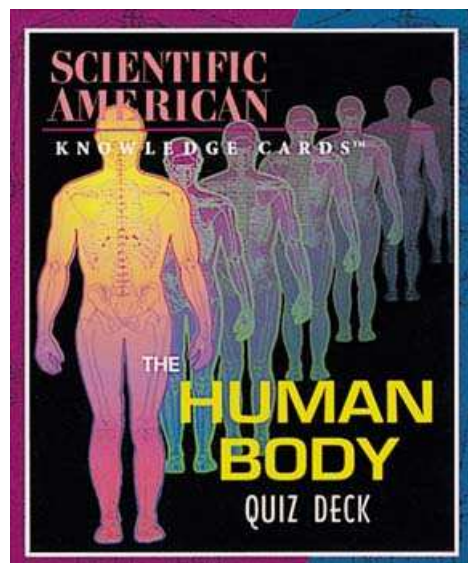
薬 が る



Pharma 2020:

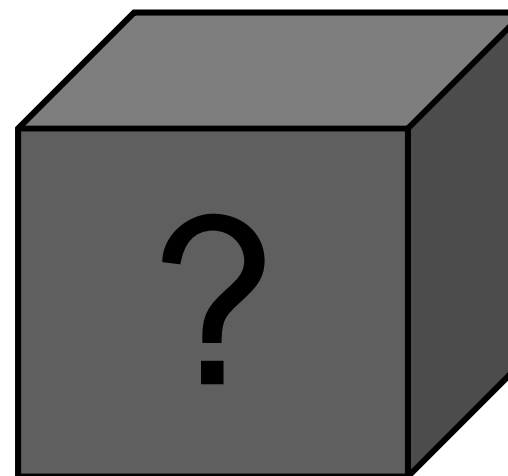
- PriceWaterhouseCoopers 2007

根源的な問題



=

ヒト分子生物学



- ❑ 慢性疾患の分子生物学について**私たちが知らないことは、私たちが知っていることよりも遙かに多い**
- ❑ ヒト分子生物学をより深く理解するために「箱を開く」ことによって、医療の深刻な問題を解決できる
- ❑ その「箱を開く」ためには**イノベーションが必要不可欠**

疾患のより深い理解が不可欠

医薬品産業 2020: ザ・ビジョン あなたはどの道を選ぶのか?



- 「医薬品産業は...医療のアンメットニーズに対応するため...研究開発の生産性を向上しなければならない」
- 「...2020年まで...疾患の病態生理学的理解を深めることに焦点をあてる企業が成功を収めるだろう」

2007年6月刊行

疾患の早期発見が不可欠

展望

イノベーション

救命薬の発見：生体全身病理学と
全身薬理学

Jan van der Greef, Robert N. Mcburney

ネイチャー・レビューズ | **薬の発見**

2005年12月刊行

「薬の発見を医療の全般的な目標と整合させるとすれば...疾患の早期発見...

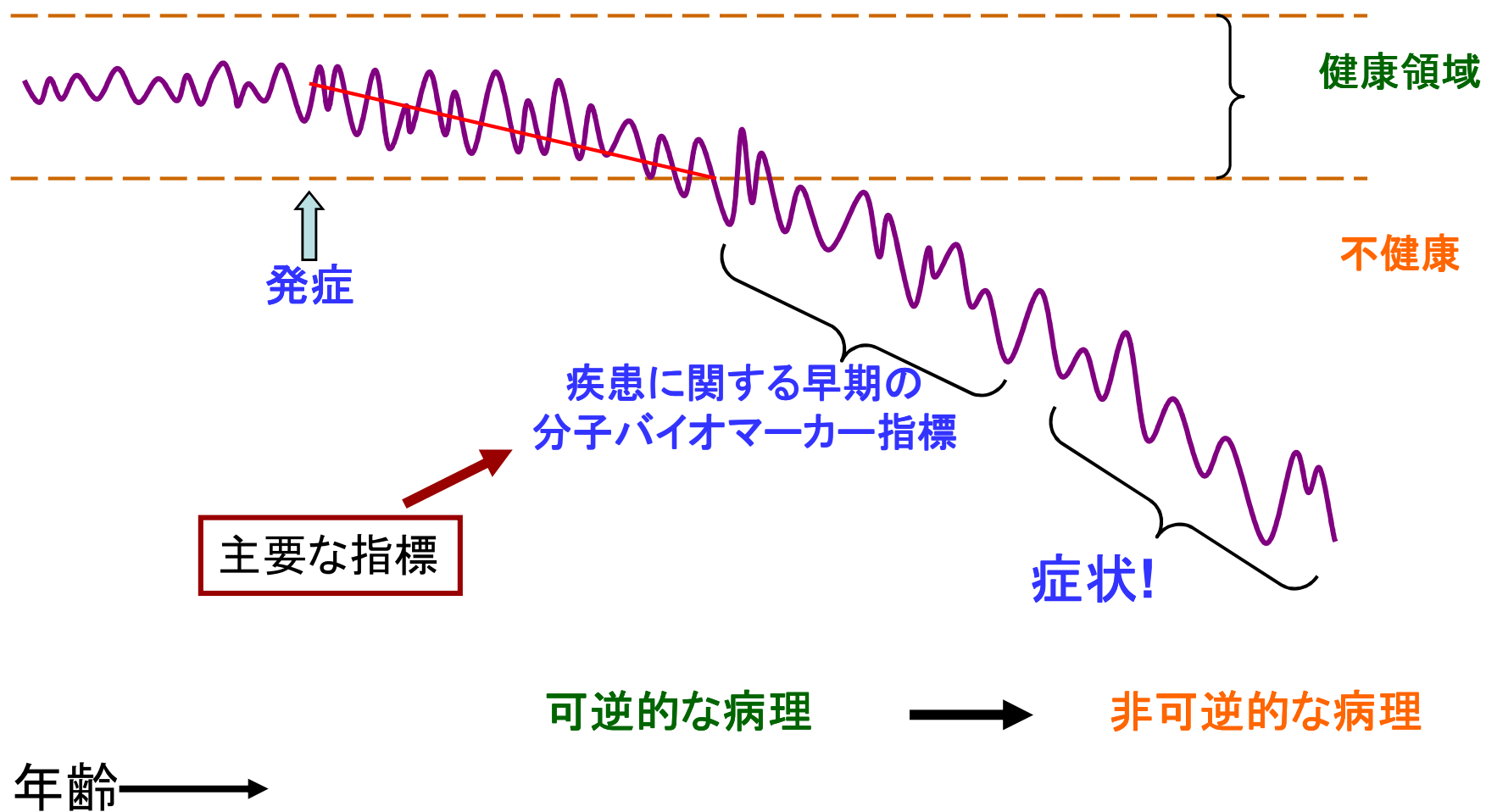
(そして)

.....非可逆的な病理が確立してしまう
前の疾患の進行阻止、逆転のための薬
理学的インターベンション...により重点
をおくべきである」

慢性疾患 - 分子指標

コンセプト: 分子健康指標

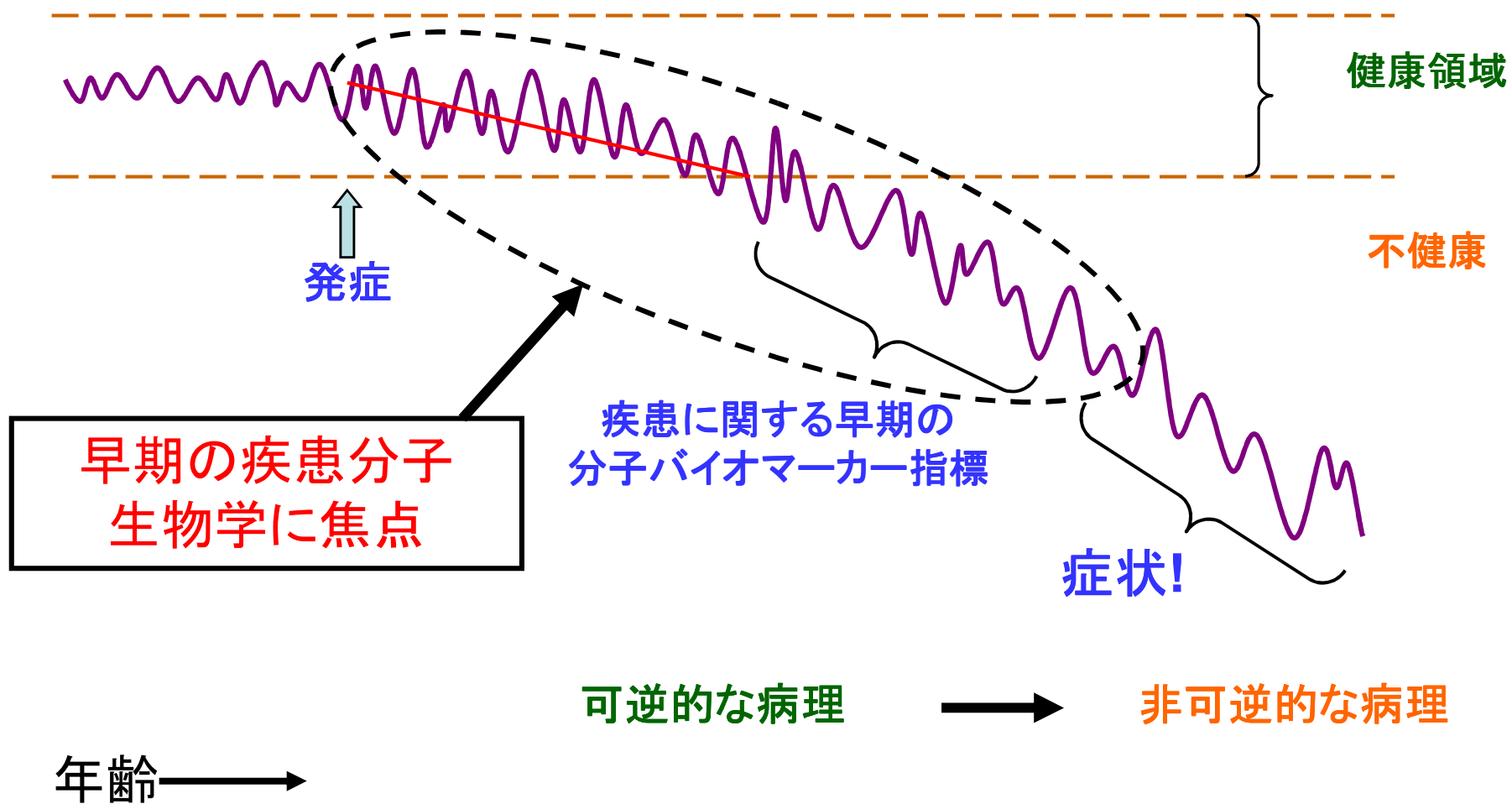
~~~~~ (例: **NIKKEI** 指標)



# 慢性疾患 - 分子指標

コンセプト: 分子健康指標

~~~~~ (例: **NIKKEI** 指標)



革新的な科学：分子バイオマーカー

- バイオマーカーの定義 (NIH/FDA, 1999)
 - 以下の指標として客観的に測定、評価される特徴：
 - 正常な生物学的プロセス;
 - 病因的プロセス;
 - 治療的インターベンションに対する薬理学的反応
- 血中・尿中で測定される分子バイオマーカーは、疾患やそのメカニズムを示す早期の指標となる
 - ❖ 例：血中コレステロール値と心血管系疾患

重要課題

- 疾患の分子生物学的側面は医療の深刻な問題
- 分子テクノロジーは利用可能だが、コストが高い
- 発症前の人々を対象とした調査はコストが高い
- 現在の医学研究に対する政府の資金援助は、個々の研究者中心に行われている
- 製薬会社は例外なく早期疾患の実態に関する情報を求めているが、それを把握するために必要なコストは負担できないほど大きい

革新的な官民連携

□ 米国の例

- ❖ NIH財団
- ❖ FDAのクリティカルパス計画
- ❖ 非政府系団体(NGO)が開始したPPP (Public-Private Partnership)

□ 欧州の例

- ❖ 画期的新薬の開発計画 (Innovative Medicines Initiative)
- ❖ プログラム7の枠組み (Framework Program 7)
- ❖ TIファーマ (Top Institute Pharma: 研究・医薬品開発コンソーシアム)

医療における新しいステークホルダー関係

革新的な官民連携が必要不可欠

支払機関

(政府または健康保険機関)

公的医療研究

製薬会社



患者会

監督機関
(政府)

医療テクノロジー関連会社

NIH財団

- 米国議会の公認
- ミッション: 以下を一般市民の保健衛生を通じて推進する:
 - ❖ 学術的発見
 - ❖ 基礎研究の成果を臨床に生かす応用研究
 - ❖ 官民連携 (Public-Private Partnership)
- PPPの例: バイオマーカー・コンソーシアム
 - ❖ NIH、FDA、メディケア・メディケイド・センター (CMS)
 - ❖ 米国研究製薬工業協会 (PhRMA)、米国バイオテクノロジー産業機構 (BIO)
 - ❖ 製薬会社22社、患者会 21団体

FOUNDATION
FOR THE
National Institutes of Health

FDAのクリティカルパス計画

Innovation

Stagnation

Challenge and Opportunity on the Critical Path to New Medical Products



U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration

March 2004

2008年2月13日 - 東京

FDA主導!

「これは、医薬品の供給に関する問題、つまり、最近、革新的治療法が患者のもとに届くまでのスピードが、予測された加速ではなく、減速しているという問題に関する食品医薬品局(FDA)の分析を報告したものである。」

クリティカルパスとは、
医薬品の発見から
販売承認までの
薬剤開発の
プロセスである

医療における新しいステークホルダー関係

革新的な官民連携が必要不可欠

支払機関

(政府または健康保険機関)

公的医療研究

製薬会社



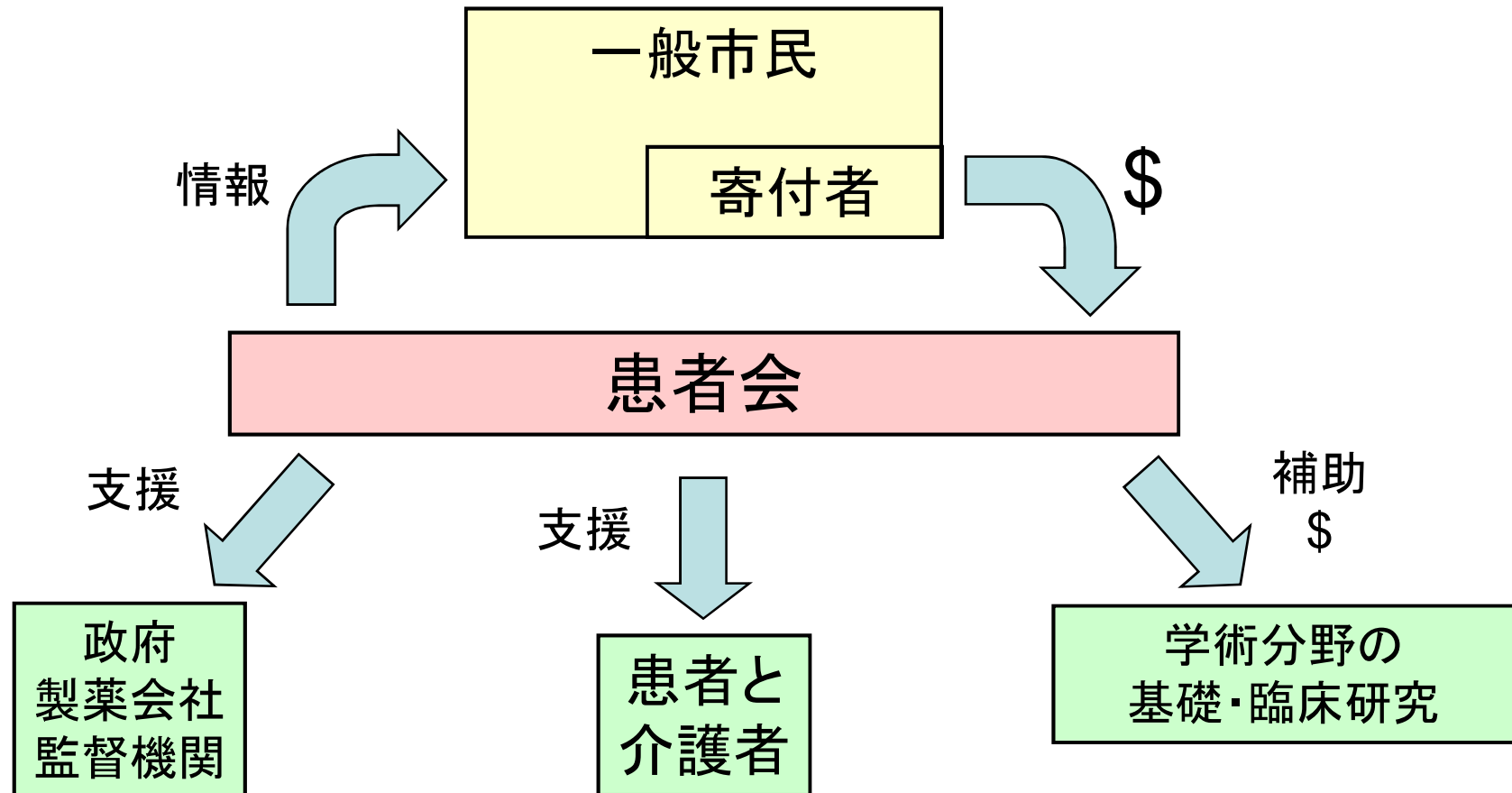
患者会

監督機関
(政府)

医療テクノロジー関連会社

患者会

従来の「ビジネスモデル」



患者会

従来の「ビジネスモデル」: メリット

- 患者会が以下に対して積極的な影響を与える事ができる:
 - ❖ 政府による疾患研究への資金供給を促す
 - ❖ 疾患治療のための新薬承認

- 患者会が、疾患に焦点をあてた**官民連携**を生み出すきっかけとなる
 - ❖ 大きな熱意とそれを補足するある程度の経済的支援が大きな効果をあげる

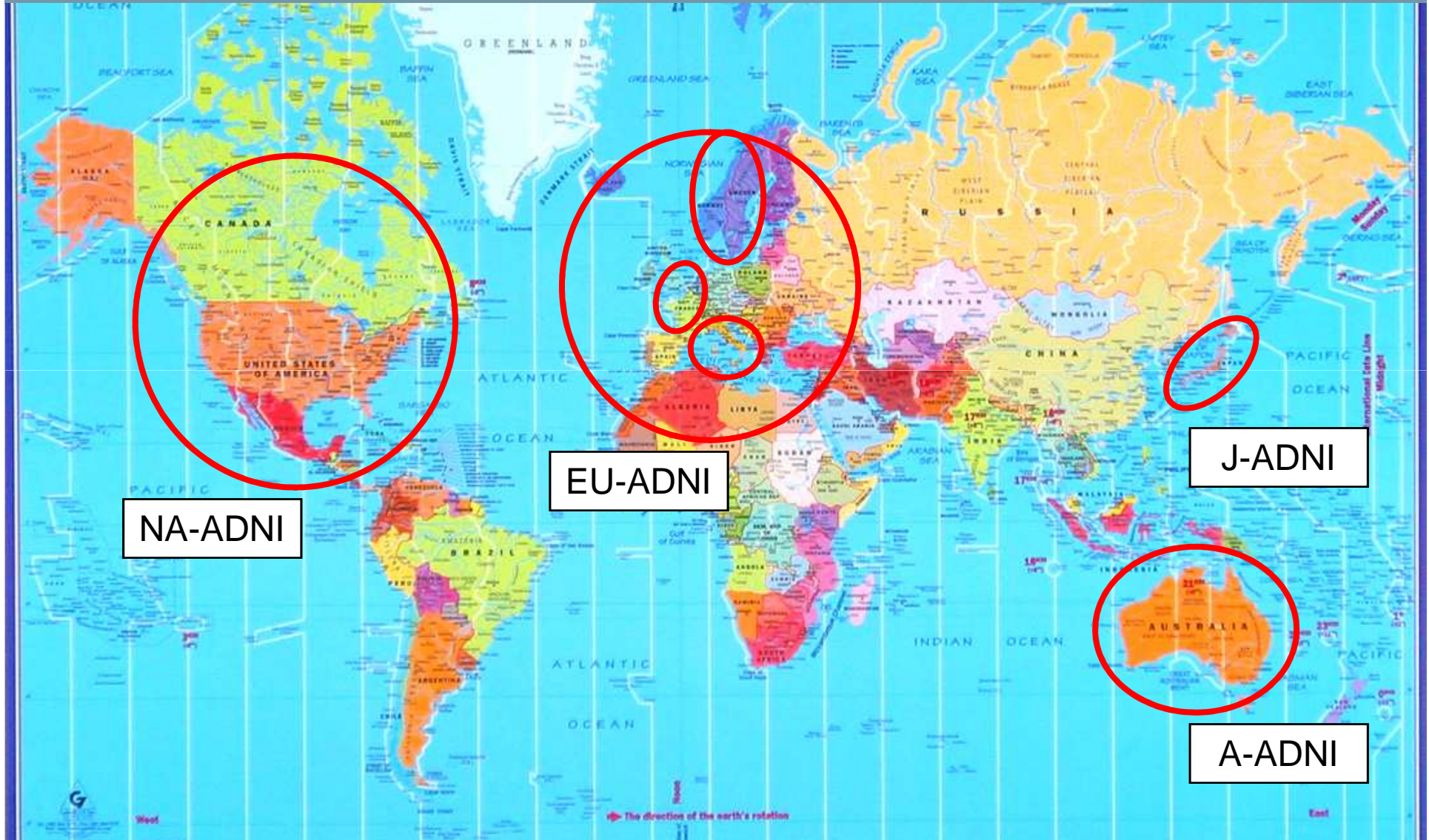
患者会

従来の「ビジネスモデル」: イノベーション例



- アルツハイマー病神経画像イニシアティブ (ADNI)-米国
 - ❖ 設立団体: AZ、BMS、エーザイ、エラン、GSK、リリー、イノジェネティクス、メルク、ノバルティス、ファイザー、ワイス、アルツハイマー協会、Institute for the Study of Aging
- ADNIの設立資金の提供とADNI国際化に向けた会合の組織をアルツハイマー協会が担当

世界のADNI(2008年)



2008年2月13日 - 東京

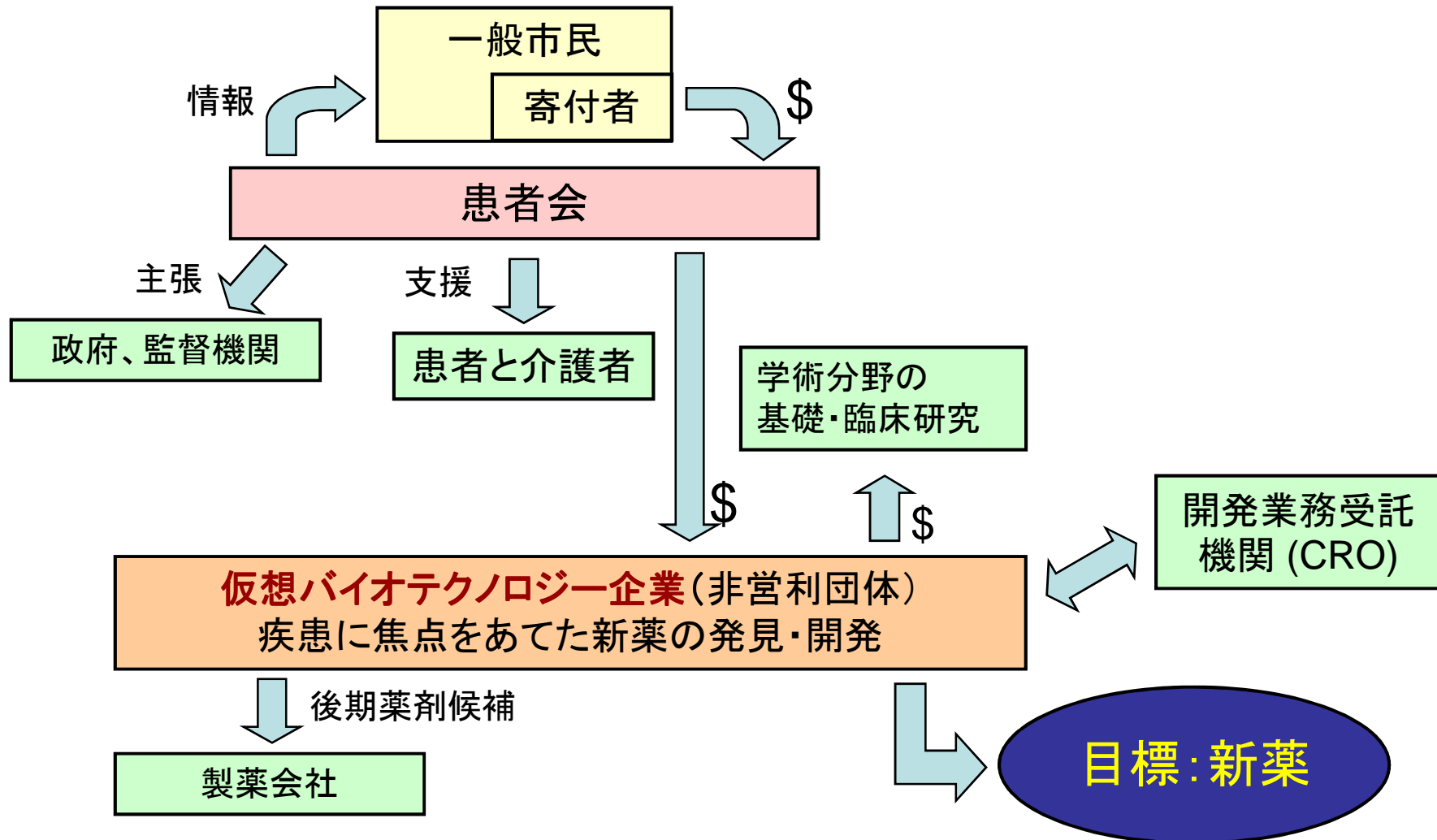
患者会

従来の「ビジネスモデル」: 問題点

- ❑ 疾患治療のための新薬開発への進展があまり見られない
- ❑ 学術研究に対する直接的資金提供は、必ずしも新薬の発見や開発に焦点をあてた研究を保証するものではない
- ❑ 製薬会社にとって初期研究開発への投資を行うには、その疾患がマーケット的に「小さすぎる」場合が多い
- ❑ 革新的な規制対応戦略への動機付けが無い

患者会

最新の革新的な「ビジネスモデル」



患者会

革新的な「ビジネスモデル」の例



- 2000年、嚢胞性繊維症財団治療学社 (CFFT社: Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics, Inc.) の設立
- Aurora社 (Vertex社) と4700万ドルのスクリーニング契約 → VX-770
- 2007年、SMA (脊髄性筋萎縮症マウス) におけるバイオマーカー発見に関する契約を締結
- 2008-9年、人体における臨床試験をスポンサー
- ケープタウン宣言 (2000年) → TBアライアンス (仮想バイオ技術)
- 結核の新薬の発見・開発を管理
- 1998年、研究および新薬の発見と開発を目的として設立
- 資金提供のために毎年、学術行動目標の策定を主導
- 2002年、ハンチントン病治療計画の設立 (仮想バイオ技術)
- 製薬会社出身の研究者23人が新薬の発見に関する契約を管理

患者会

革新的な「ビジネスモデル」がもたらすもの

愛か金か

生体医学の研究者は資金を欲しがり、
民間財団は治癒を望む。
この2つの思惑が絡み合ったときの喜びと
緊張をErika Checkが取材した。



2007年5月NATURE誌第227号より

2008年2月13日 - 東京

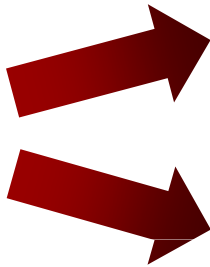
医療と製薬業界の方向性

対象疾患患者向けの薬



個別化された薬

症状に基づく診断



分子学的診断

症状が出る前の
診断と予防

対症療法



疾患を改善する療法

予後に重点をおいた
薬剤開発



バイオマーカーを
指針とする薬剤開発

これからの医療：まとめ

- 予測、予防、個別化、参加 (Predictive, Preventative, Personalized, Participatory)
 - ❖ P4メディスン™ - Lee Hood (システムバイオロジー研究所所長)
- 疾患の分子生物学的側面の理解に焦点
- 医療および薬剤開発の主要ドライバは 分子情報とバイオマーカー
- 医療の重要問題を解決するためには 官民連携が不可欠
- 支払機関、監督機関、製薬会社の協力が迅速な条件付承認につながる
- イノベーションを促す環境が必要不可欠

これからの医療 学術とステークホルダー関係における 新しいトレンド

ご静聴ありがとうございました
ご質問はございませんか？

ロバート・N・マクバーニー(Ph.D.)

BG Medicine社

研究開発部門副社長・最高学術責任者

米国マサチューセッツ州ウォルサム市

BG Medicine社：実績

明日の医療に可能性をもたらす

- ❑ BG Medicine (BGM) はバイオマーカーをベースとする薬剤分野のトップ企業
- ❑ BGM社は、最先端のシステム生物テクノロジーを駆使して疾患及び薬剤反応の分子バイオマーカーを開発
- ❑ BGM社は医療分野の様々なステークホルダーとの連携を構築
 - ❖ 製薬会社



Daiichi-Sankyo



MERCK



Johnson & Johnson

AstraZeneca

ORION
PHARMA

gsk

GlaxoSmithKline

❖ 医療費支払機関

HUMANA
Guidance when you need it most

❖ 医療テクノロジー会社

PHILIPS

❖ 政府組織



National Heart
Lung and Blood Institute



❖ 患者会

SPINAL MUSCULAR ATROPHY
FOUNDATION



TB ALLIANCE
GLOBAL ALLIANCE FOR TB DRUG DEVELOPMENT

2008年2月13日 - 東京

BGMEDICINE

バイオマーカーの発見：遺伝学は有望か？

遺伝子は脚本であるが...

...ヒト生物学における演者はタンパク質や代謝物である...



...そして体液は...臨床的に有用な
バイオマーカーの...宝庫である