

新医薬品産業ビジョン
～イノベーションを担う国際競争力の
ある産業を目指して～

平成19年8月30日

厚生労働省

目次

はじめに	．．．．P 3
1. 医薬品産業ビジョン策定後5年間の変化と新ビジョン策定の考え方	
(1) 前回ビジョン策定後5年間の変化	
(2) 国際競争力の強化とドラッグ・ラグの解消のために何が求められているか	
(3) 新ビジョンにおける施策の方向	
2. 医薬品産業に求められるもの	
3. 本医薬品産業ビジョンのポイント	
I. 医薬品産業を取り巻く環境の変化	．．．．P 9
1. 生命科学の発展	
(1) 生命科学分野の研究開発の動向、近年の変化	
(2) 新薬の開発に繋がる研究開発	
2. グローバル化の進展と本格的な国際競争	
(1) グローバル化の進展	
(2) 研究開発国際競争の激化	
(3) アジアとの連携	
3. M&A増加や資本市場の変化等	
4. 製薬関連産業の機能分化	
5. 急速な高齢化の進展等に伴う医療費の増大の影響	
6. 医療に対する国民の意識の変化	
7. ワクチン等の予防医療に対するニーズと産業の将来	
II. 医薬品産業の現状と課題	．．．．P 24
1. 市場の特徴	
(1) 市場規模	
(2) 市場構造	
2. 産業の特徴	
(1) 産業構造	
(2) 国際競争力	
(3) 企業規模	
(4) 技術・研究開発の状況	
(5) 販売力	

Ⅲ. 医薬品産業のイノベーション主導による発展のメカニズムと産業の将来像・・・P 3 3

1. 医薬品産業の特色とイノベーション主導による発展、その波及
2. 製薬産業の将来像 ～国際競争力のある製薬産業の構造～
 - (1) 製薬企業の向かう方向性
 - (2) 新しく起こる産業
 - (3) 異業種の参入・融合
3. 医薬品卸売業の将来像
 - (1) 医薬品卸売業の現状
 - (2) 医薬品卸売業の課題と将来像
4. 医薬品小売業の将来像
 - (1) 医薬品小売業の現状
 - (2) 医薬品小売業の課題と将来像

Ⅳ. 医薬品産業政策の基本的考え方・・・・・・・・P 4 4

1. 企業自身による戦略的な経営展開
2. 国の役割
3. 革新的新薬創出のための集中期間の設定と政策の実施
4. イノベーション主導型の新薬開発を促進するための産業政策
5. イノベーション波及の効果に着目した産業政策

Ⅴ. 「革新的新薬創出のための集中期間」(5年以内)に行う具体策・・・・・・・・P 4 8

1. 政府における取組の強化・推進
 - (1) 政府全体としての総合的な対応
 - (2) 関係省庁等における積極的な取組
2. 本ビジョン実現のためのアクション・プラン
 - (1) 研究開発に対する支援
 - (2) 治験・臨床研究の推進
 - (3) 承認審査の迅速化と質の向上等
 - (4) 薬価制度・薬剤給付の今後の在り方
 - (5) 後発医薬品市場の育成
 - (6) 一般用医薬品市場の育成
 - (7) 流通機能の効率化・高度化
 - (8) 医薬品の適正使用の推進
 - (9) 官民の推進体制の整備

終わりに・・・・・・・・P 6 9

※ この報告書の作成に当たり、日本製薬工業協会医薬産業政策研究所「製薬産業の将来像～2015年に向けた産業の使命と課題～」(2007.5)をはじめ内外の数多くの文献や調査報告書を引用させていただいた。また、東京大学大学院薬学系研究科・寄附講座ファーマコビジネス・イノベーション教室の木村教授をはじめ多くの方々に御協力いただいた。全ての関係者の方々に感謝を申し上げる。

はじめに

1. 医薬品産業ビジョン策定後5年間の変化と新ビジョン策定の考え方

(1) 前回ビジョン策定後5年間の変化

- ・ 厚生労働省が初めて国家戦略としての医薬品産業ビジョンである『生命の世紀』を支える医薬品産業の国際競争力強化に向けて～医薬品産業ビジョン～(以下「前回ビジョン」という。)を2002年に策定してから、5年が経過した。
- ・ この間、製薬企業間のM&Aが進むとともに、大企業を中心に国際展開が進み、海外売上高比率も50%に近い水準に上昇してきた。また、治験活性化などの国の支援策も治験届数が増加に転じるなど、徐々に効果を上げ始めている。
- ・ しかしながら、世界の大型新薬に占める日本オリジンの比率は伸びておらず、2000年以降に限定してみると日本発の大型新薬は登場していない。また、欧米企業との研究開発費の規模の差も拡大傾向にあるなど、我が国企業の国際競争力は未だ十分とは言いがたい状況にあり、今、試練の時を迎えている。
- ・ 一方、我が国においては医薬品が上市されるタイミングは世界的な水準から見ても遅い状況にある(いわゆる「ドラッグ・ラグ問題」)。さらに、世界の医薬品開発が、複数国で同時に開発を行う国際共同治験が主流になりつつある中で、相対的にコストの高い治験環境等を背景に、新薬創出国において我が国のみこの流れに乗り遅れているという指摘がある。これは、我が国の医薬品市場自体が国際競争力を失いつつある、とも言える。
- ・ このように、医薬品産業ビジョンで目指した方向性の達成が未だ十分とは言えない中で、昨年から政府全体として経済成長の加速化、イノベーションの促進が大きな政策課題として位置付けられることになった。
- ・ 特に、医薬品産業は、国民の保健医療水準の向上に資するとともに、知的財産立国を目指す我が国を担うリーディング産業として、国民経済の発展にも大きく貢献することが期待できる産業である。医薬品産業は、成長に貢献するイノベーションの創造に資する分野として、いわばイノベーションの1丁目1番地とも言える重要な役割を担っていると考えられるのである。
- ・ こうした前回ビジョン策定後の5年間の変化を踏まえ、また、我が国の重要政策課題であるイノベーションの促進と成長力加速という基本方向を踏まえ、我が国医薬品

産業の国際競争力の強化とドラッグ・ラグの解消を図り、これにより最終的には「医療ニーズに対応した安全で質の高い医薬品が国民にできるだけ速く合理的な価格で提供されること」ができる豊かな国を目指すため、新たな医薬品産業ビジョンを策定することとする。

(2) 国際競争力の強化とドラッグ・ラグの解消のために何が求められているか

- ・ 「生命科学の世紀」とも言われる 21 世紀において、医薬品産業は、国民の保健医療水準の向上に資するだけでなく、経済の発展にも大きく貢献することが期待される産業であるが、このような産業であるからこそ、世界的な規模で競争は激化している。
- ・ 日本は、アメリカ、イギリスに次いで世界第 3 位の新薬開発力を有していると言われていたが、医薬品の国内市場規模は世界市場の 10% 程度まで相対的に縮小しており、製薬企業は我が国の市場のみを対象としていたのでは今日の熾烈な国際競争を勝ち抜いていくことはできず、まして、次の新薬開発への投資を続けていく好循環に乗っていくこともできない。
- ・ また、「ドラッグ・ラグ」の存在は我が国の創薬環境及び医薬品市場の国際的の魅力が低下していることの現れであり、我が国が国別には世界第 2 位の医薬品市場であることを考えれば、これらの国際競争力を高めることができれば、海外の最新の治療薬の迅速な導入に役立ち、我が国の患者が最高水準の医療を速やかに受けることができるようになると思われる。
- ・ これらの二つの課題に答えていくためには、我が国の創薬環境・医薬品市場をオープンで国際的に整合性のとれたものにしていくことが不可欠であり、そうした観点から政策を総点検していく姿勢が求められていると言える。

(3) 新ビジョンにおける施策の方向

- ・ 以上のような観点から、政府としては、総合的な政策パッケージの策定と、このような重要事項を官民で議論するための官民対話の場の設置に取り組んできた。
- ・ 2007 年 1 月 31 日には、厚生労働大臣主催のもと、文部科学大臣・経済産業大臣、製薬業界、教育・研究機関の関係者等が参集し、医薬品分野のイノベーション創出と医薬品産業の国際競争力の強化について共通認識を持つことを目的として、「革新的医薬品のための官民対話」を設置した。
- ・ さらに、2007 年 4 月 26 日に 2 回目の官民対話を行い、この場で、研究資金の集中投入、ベンチャー企業の育成等、臨床研究・治験環境の整備、アジアとの連携、審査の迅速化・質の向上及びイノベーションの適切な評価からなる「革新的医薬品・医療機器創出のための 5 か年戦略」（文部科学省・厚生労働省・経済産業省）を決定したと

ころである。

- ・ この5か年戦略の背景となった考え方は、世界の優れた新薬が速やかに日本の患者に届けられるためには、まず日本の企業が欧米に遅れずに日本で研究開発・上市を行うインセンティブを高め、かつ、海外の企業においては日本を重要な市場と見なし、積極的に投資するとともに上市を早くすることが必要であり、そのため、我が国を欧米と同時開発が可能となるような創薬環境の場にするとともに、革新的な新薬の適切な評価を行うなど、国内市場の環境を整備することが重要である、というものである。
- ・ なお、同時に、医療保険財政の持続可能性との調和を図りつつ、革新的な新薬の適切な評価を行うためにも、後発医薬品や一般用医薬品の使用を一層促進していくことも重要な課題である。
- ・ この5か年戦略を基本的な戦略としつつ、医薬品産業の将来像、関連産業の発展の姿等やそのために必要な施策も加えた総合的な産業ビジョンが本ビジョンである。
- ・ なお、この産業ビジョンは、共通認識に基づき、官民が共同して取り組むためのビジョンであり、産業に求められること、政府として行うことについても、官民が適切な役割分担に応じて協調して取り組むべきものである。

2. 医薬品産業に求められるもの

- ・ 医薬品は医療の一環に位置づけられるものであり、生命関連商品としての高い価値と重い社会的責任を持つものである。産業ビジョンは、様々な点について官民で共通認識を持つことを一つの目的にするものであり、官民で責任を分担し、また分かち合うことも重要である。製薬企業に求められるのは国際競争力の強化だけではない。
- ・ 時代とともに、社会における疾病構造は変化している。その時代の疾病構造におけるアンメット・メディカル・ニーズ（未だ満たされていない医療ニーズ）への対応が重要であり、そのニーズをいち早くキャッチし、それに対応した新薬開発を成功させた製薬企業が世界の今後の医薬品業界をリードしていくと予想される。
- ・ また、まだ治療方法のない難病の治療薬や、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）、新たな感染症の予防等に有効な新たなワクチンなど、収益性は低いものの、開発の重要性が認識されている医薬品は多い。
- ・ 日本に基盤を置く製薬企業として、国内又はアジアのニーズにより合った医薬品の開発及び供給について取り組んでいくことは評価されるべきであり、政府の取組と同様に極めて重要である。さらに、医薬品アクセスの悪い発展途上国に対する人道的支援や、新型インフルエンザや災害、バイオテロ等の不測の事態の発生に対する危機管理等について、社会的・国際的に貢献することも期待されている。
- ・ 製薬企業が日本に研究開発の拠点・基盤を置いて、日本オリジンの新薬を開発することは歓迎すべきである。また、そのような企業に対する国の支援は十分検討されるべきである。

3. 本医薬品産業ビジョンのポイント

- ・ 本医薬品産業ビジョンは、平成 14 年（2002 年）に公表した医薬品産業ビジョンを現時点で全面的に見直しを行い、新産業ビジョンとして策定し、公表するものである。

（主な環境の変化）

- ・ まず、医薬品産業を取り巻く環境の変化として、生命科学分野の研究開発の動向、特にヒトゲノムの解読を終え、ポストゲノム研究がむしろ RNA 転写レベルでの機能の理解や、分子生物学的な疾病構造の理解などが重要なテーマとなっていること、それを反映して医薬品分野では、抗体医薬や分子標的薬といった新薬開発競争が激化していることを取り上げている。
- ・ また、グローバル化の一層の進展がもう一つの重要な環境変化である。世界の主要製薬企業では世界同時開発が主流となる中で、国際共同治験に日本が取り残されていること、世界各国でイノベーションへの認識が急速に高まり、研究開発の国際競争が政府レベルで進んでいること、我が国も「革新的医薬品・医療機器創出のための 5 年戦略」を策定して取り組み始めたことなどを取り上げている。
- ・ さらに、製薬業界における企業の合併買収等の動きが一層進み、我が国の製薬業界においても大きな企業合併が動き始めたこと、一方ベンチャー企業の興隆、様々な受託を行う企業の増加など、多様な関連産業が発展していることについても取り上げている。

（産業の現状と課題）

- ・ このような環境変化を踏まえた上で、医薬品産業の現状と課題について整理を行っている。前回ビジョンの時点での産業の現状と比較すれば、日本の国内医薬品市場において外国オリジンの医薬品のシェアが伸び、一方で欧米主要国で販売されている医薬品の日本への上市が遅れるという「ドラッグ・ラグ」の問題が明らかになってきている。また、産業の国際競争力という観点で見ても、過去 5 年間の取組にもかかわらず、進展したとは言い難い。
- ・ このような医薬品産業を巡る状況を整理すれば、新薬開発をめぐる国際競争が政府も巻き込んで熾烈化する中で、我が国医薬品産業の国際競争力は伸びておらず、創薬環境、市場そのものの国際競争力（＝国際的な魅力）も失われかけている、といういわば危機的状況にある、と言っても過言ではない。

（本ビジョンの特色）

- ・ このような現状認識に立つて、産業の将来像を示すとともに、政府として取るべき

施策についてアクションプランの形で示した。これは、前回ビジョンと基本的に同様の構造であるが、産業の将来像については、

- ①産業の将来像を、国際競争の現状を踏まえ、見直した。
- ②産業の発展に、継続的イノベーションが必須であることを明確化した。
- ③医薬品卸売業についても、産業の将来像を示し、求められる機能を示した。

などの新たな特色を持っている。

- ・ また、政府が取るべき施策については、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を3省庁連携の下に本年4月にまとめたところであり、これを中心としつつ、後発医薬品市場の育成、一般用医薬品市場の育成、流通機能の効率化・高度化も含めた総合的なアクションプランをこのたび策定した。

(本ビジョンの構成とフォローアップの仕組み)

- ・ 本医薬品産業ビジョンも、先のビジョンと同様、10年後の産業の姿を展望しつつ、5年間の集中的な取組期間を定め、具体的なアクションプランを策定し、各種施策の毎年のフォローアップを官民で行っていく、という構成としている。
- ・ フォローアップについては、アクションプランの一部が前述の5か年戦略で掲げたものと同じであることから、本年、厚生労働大臣主催により文部科学大臣、経済産業大臣の参画を得て行われることとなった「革新的創薬のための官民対話」の場も活用しつつ、アクションプラン全体については、従来通り「医薬品産業政策の推進に係る懇談会」において施策の進捗状況を報告することとする。

(本ビジョンの位置付け)

- ・ 今回の産業ビジョンは、以上のように、前ビジョンを踏まえつつも、その後の環境変化に対応し、各省連携の仕組みや官民対話の仕組みを一層進め、国際化・国際競争力強化の新たな地平面を目指すものである。したがって、前回ビジョンの見直しにとどまらず、新たなビジョンの策定として「新ビジョン」と呼ばれるべきものである。
- ・ なお、治療などに焦点を当てた医薬品開発のみならず、ワクチンなどの予防・治療を目的とする医薬品を視野に入れた医薬品開発を行う産業の方向性も同時に重要性を増しており、「ワクチン産業ビジョン」(2007年3月厚生労働省)とも連携して対応していくこととする。

I. 医薬品産業を取り巻く環境の変化

1. 生命科学の発展

(1) 生命科学分野の研究開発の動向、近年の変化

- ・ 21世紀は、「生命科学の世紀」と言われており、生命科学の発展は人類を悩ます病の克服など、人々の命や生活に直結した領域での貢献が期待されている。
- ・ 特に、少子高齢化社会、人口減少社会が到来した我が国において、生命科学研究は、国民の健康長寿の実現、新型インフルエンザやSARS（重症急性呼吸器症候群）など新興・再興感染症への対応等の国民の安全の確保を実現するとともに、医薬品産業の国際競争力強化につながる科学技術として注目されている。
- ・ また、国際的にも生命科学研究に対する期待は大きく、2000年を機に各国とも生命科学分野の研究に積極的な公共資金の投資を行い、知的財産戦略も含めて各国間の研究開発競争が激化している。
- ・ ヒトゲノムの解読が進みポストゲノム研究への取組が加速され一定の成果を収めてきたが、今後の生命科学研究の流れを考えると、個々のヒトゲノムの遺伝子レベルに留まらず、ハプロタイプ等の遺伝子の集合体としての機能、RNAの転写レベルでの機能、さらに発現たんぱく質、代謝物等の様々なレベルでの分子生物学的な疾病構造の理解や、生命体としての統合的な全体像の理解を深めることなどが重要なテーマとなってきている。
- ・ 特に創薬、医療技術関連の研究開発については、実用化までに長期の実証的研究が必要であるが、これまで進展が図られた基礎研究の過程や研究の成果を速やかに実用化につなげるための仕組みづくりが重要であり、今後は、より一層国民への成果還元の見点を重視して、臨床研究・臨床への橋渡し研究を推進していくことが求められている。

(2) 新薬の開発に繋がる研究開発

- ・ 21世紀に入って、ヒトの遺伝子が解読されてから、ゲノム科学やタンパク質科学等を応用した新薬の開発が世界中で進められている。
- ・ これら生命科学研究の進展により、人間が本来持つ免疫機能の“抗体”の性質を利用した「抗体医薬」や、特定の遺伝子（分子）、細胞の表面にあるたんぱく質（高分子）などのターゲットを見分けて特定の細胞や遺伝子等のみに選択的に攻撃（作用）する

「分子標的薬」、遺伝子の転写機能に着目し、RNAの機能に作用する「RNA干渉薬」の開発が進んできている。特に、抗がん剤の分野で有望視されており、今後は最も発展する医薬品分野の1つとして期待されている。

- ・ また、有効性・毒性（安全性）の観点から医薬品候補化合物を絞っていく手法も発達しており、薬物や化学物質に対して副作用が生じる原因を副作用が生じた時の情報を基に、ゲノムベース（遺伝子レベル）で調べる新しい毒性評価法「トキシコゲノミクス」や、特定の疾患群に対して有効かつ安全で最適な医薬品を探索・開発するために、患者のゲノム情報（遺伝的特徴）の解析を行い、その疾患に最適な薬剤の開発を目指す「ファーマコゲノミクス」などがある。
- ・ さらに、新たなバイオテクノロジーは情報科学分野と密接に関係しており、配列情報からの遺伝子の発見、生体分子の構造解析、タンパク質の相互作用の予測などは、ITとバイオ技術を融合させて行う「バイオインフォマティクス」を駆使しており、これらを抜きにして創薬における実用化は困難である。
- ・ 特に、コンピューター上で疾患関連のタンパク質と医薬品の作用などの生命現象を再現する、いわゆる「in silico」での解析技術が著しい進歩を遂げている。これらは、創薬における開発スピードと密接に関係しており、バイオインフォマティクス事業に対する研究開発費もここ数年急増する傾向にある。
- ・ 医薬品についてはこれらの手法を通じた創薬ターゲット研究により、
 - ① 創薬ターゲット発見機会の増大や、医薬品研究開発プロセスの確率論的手法から論理的かつ科学的な手法への変化を通じて、従来の創薬手法より効率よく医薬品が開発できること、
 - ② こうした創薬手法を活用した「ファーマコゲノミクス」により、患者にとっては、個人の体質等に合った、より有効で安全な医薬品が開発され、効率的、経済的な医薬品の投与が可能となること、が期待されている。
- ・ こうした新たな創薬ターゲット研究による医薬品を10年後までには、医療や患者に還元できる成果として多く生み出せるよう、製薬企業は技術開発力を強めていかなければならない。このような創薬手法の革新的な変化における国際競争において主導的な地位を獲得していくことが大きな課題である。
- ・ また、医薬品の開発には遺伝子、細胞、実験動物などの生物資源が欠かせないため、（独）医薬基盤研究所と（財）ヒューマンサイエンス振興財団とが連携して設置した研究資源バンク（大学・企業等の各研究機関より生物資源を収集し標準化を行い、さらにその資源を培養して各研究機関に分譲する。）により、研究現場で必要とされる生

物資源を開発するとともに、様々な生物資源を収集・保全し、研究現場に安定的に供給するための研究も行っている。

- ・ 年々、より多様化する創薬ターゲット研究の中でこうした創薬基盤研究を行う研究支援機関と民間研究の役割についても、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」にも規定された研究開発資源の集中などの課題との関連において整理すべき状況となっている。

2. グローバル化の進展と本格的な国際競争

(1) グローバル化の進展

- ・ 20 世紀の科学技術の急速な進歩は、産業構造、社会、生活の有り様を大きく変え、さらに多くの病気の克服、寿命の延長に始まる大きな恩恵をもたらし、また、交通手段やITの急速な変化を背景として、いわゆる人、モノ、金がどこにでもすばやく動き、情報がどこでも共有される「グローバル時代」をもたらした。
- ・ 産業活動も世界市場でボーダレスに展開していく 21 世紀においては、科学技術は経済成長へのシーズをもたらすものとして、国際競争がますます激化しており、公的資金の政策的投入、企業の研究開発投資、研究支援を推進する制度改革が各国で進んでいる。我が国でも科学技術の重要性の認識に基礎をおく政策は将来への投資として重点分野とされている。
- ・ とりわけ他産業にない高い研究開発リスクと医薬品の承認申請等に係る諸手続等を多く抱える医薬品産業においては、世界各国でしのぎを削って行われているバイオやゲノム等の最先端の研究の成果をいかに効率よく利用し、いかにスピードを上げてシーズの探索、研究開発を行い医薬品としての承認を取得していくか、また世界各国でいかに販売活動を拡大し収益の最大化を図っていくかが、極めて重要である。
- ・ 実際、世界の売上上位にある製薬企業の全てがボーダレスに研究開発や販売等の事業活動を展開しており、今や新薬の世界同時開発・販売が主流になってきている。このような状況において、欧米のみならず、新たな市場となる可能性を有し、治験コストの安価な東ヨーロッパ・アジア等を含めた国際共同治験が世界規模で進んでいるにもかかわらず、そこに日本だけが乗り遅れつつある。
- ・ また、こうした急速なグローバル化の時代において、世界各国で「イノベーション」の重要性への認識が急速に高まっており、産業の国際競争力を高めて行く上で、研究開発の成果を速やかに国内外市場へ届け、経済的・社会的価値への転換につなげるため、発明、技術革新、基礎研究の成果の実用化等のプロセスを、しかも国際レベルでのスピードで推進させる社会システム等の形成が必要である。
- ・ 特に医薬品においては、承認を得るために莫大な費用がかかる治験を行わなければならないことから、審査基準の調和が強く求められている。このため、1993 年より日米欧の三極による医薬品規制調和国際会議（ICH）が開催され、承認審査に関する基準の統一化が図られ、海外で実施した治験データを一部活用する等の進展が見られた。しかし、開発段階からの日米欧の規制当局の共通した相談体制等、欧米で試行されている共同相談を踏まえた、日米欧の協力関係の在り方に係る検討が必要である。

- ・ また、政府がバイオテクノロジー等の先端科学技術を活用した医薬品を迅速かつ適切に審査し、市販後における有効性や安全性を確認していくためには、こうした薬事行政自体が技術の進展に追いつき、生命科学の目覚ましい進展にしっかりと対応した科学的な審査が実施できるようなレギュラトリー・サイエンス（規制科学）を有していることが必要である。
- ・ 「新健康フロンティア戦略」（2007年4月新健康フロンティア戦略賢人会議）においても、実用化における製品・技術評価の迅速化等のための取組として、「革新的技術を用いた製品の有効性・安全性の適切な評価手法に関する調査研究を推進する」とこととされており、レギュラトリー・サイエンスは今後の重点施策の一つと考えられる。¹
- ・ なお、レギュラトリー・サイエンスの充実に向けて、薬事行政を担当する部局の努力とともに、これらを科学的に支える国立試験研究機関、研究開発独立行政法人等における関連諸科学の発展や教育の充実といった基盤の整備が重要である。

（2）研究開発国際競争の激化

- ・ ライフサイエンス分野は、先進各国とも経済発展の牽引分野と位置づけ、重点領域化し、国家戦略として取組を強化している。
- ・ アメリカでは、政府における研究開発予算に占める NIH（The National Institutes of Health）の比重は大きく、約4分の1を占めるに至っている。さらに、2004年からは基礎研究の成果と研究成果の臨床応用への展開を加速するための戦略的イニシアチブ「NIH ロードマップ」計画を展開し、単独の研究所では成果を上げることが困難な、複雑な生物系の解明のための研究、学際領域研究やハイリスク研究、臨床研究の再構築などの領域に対して NIH 傘下の研究機関全体として組織横断的な研究が進められている。
- ・ EUでは、新薬の探索と開発を加速するための官民パートナーシップ事業「革新的医薬品イニシアチブ」が展開され、2006年には、解消に取り組む創薬プロセス上のボトルネックを特定した「戦略的研究アジェンダ」がまとめられた。特に、イギリスではイギリスにおける臨床研究の推進を目的としたパートナーシップ（UK Clinical Research Collaboration：UKCRC）の創設（2004）、NHS内の研究調整・治験実施の促進に向けた（National Institute of Health Research：NIHR）の創設（2005）等の取組や、

¹ アメリカでは、審査当局のFDAの報告書「クリティカル・パス・オポチュニティー」（2004年）において、開発におけるボトルネック解消のためのレギュラトリー・サイエンス（例：ヒト試験を要せず薬効や毒性を事前に予測できるマイクロアレイ技術を用いたバイオマーカーの発見・活用、ヒトの疾患に近似した疾患モデル動物の開発やそれを利用した薬効評価等）の実現を目指すとしている。

2006年には①ヘルスリサーチの中央調整組織（Office for Strategic Coordination of Health Research：OSCHR）の設置、②医学研究会議（MRC）と国立衛生研究所（NIHR）共同のトランスレーショナル・リサーチへの助成（Translational Medicine Funding Boardの創設）という提言がなされている。

- ・ 日本においても、科学技術基本法に基づき、「科学技術創造立国」を目指し、21世紀の科学技術の振興に関する施策の総合的かつ計画的な推進を図るための基本方針として、「科学技術基本計画」（第1期：1996年度～2000年度）が策定された。第2期（2001年度～2005年度）では、ライフサイエンス分野を重点分野に掲げ、第3期（2006年度～2010年度）においても引き続き重点分野にするとともに、研究開発投資の選択と集中を進めるために分野別推進戦略が定められ、基礎研究の成果を創薬につながる臨床研究・臨床への橋渡し研究などに集中投資を行うことが決定された。²
- ・ 2007年4月には、厚生労働大臣のイニシアティブのもと、革新的医薬品・医療機器の国際的開発・提供体制へ我が国が参加していくとともに、医薬品・医療機器産業を日本の成長牽引役へ導き、世界最高水準の医薬品・医療機器を国民に迅速に提供することを目標として、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を策定した。本戦略は、「経済財政改革の基本方針2007」（2007年6月19日閣議決定）においても着実に推進することとされ、国家戦略として医薬品産業への支援を行うことが示された。
- ・ そのほか、2025年までを視野に入れ、研究開発等の中長期にわたって取り組むべき政策を示した長期戦略指針「イノベーション25」（2007年6月1日閣議決定）、予防重視の健康づくり進め、健康で元気に暮らせる“健康寿命”を延ばせるよう支援する「新健康フロンティア戦略」（2007年4月）、医薬品・医療機器産業の国際競争力の強化のため、上述の5か年戦略の実施を示した「経済成長戦略大綱」（2007年6月）なども策定された。³

² このほか、国家戦略として、2000年度から高齢化社会に対応し個人の特徴に応じた革新的医療の実現を目指す「ミレニアム・プロジェクト」（5カ年計画）、2001年度から、がん、心筋梗塞、脳卒中、痴呆、骨折について予防と治療成績の向上を目指す「メディカル・フロンティア戦略」（5カ年計画）、2005年から、要介護者を減らし、健康寿命を2年伸ばす「健康フロンティア戦略」（10カ年計画）などの施策を行ってきた。

³ また、研究開発支援制度も着々と整備されてきており、大学等技術移転促進法（TLO法、1998年）、産業活力再生特別措置法（日本版バйдール法、1999年）による技術移転の推進、研究交流促進法改正（1998年）による国と民間の共同研究の推進、産業技術力強化法の制定（2000年）による生産性の高い新事業・新市場の創出、特許法改正（2000年）による医薬品特許の強化（特許権の存続期間の延長制度における2年足切り要件の廃止等）が行われた。また、一国で特許を取得した出願についての審査結果を提出することにより、他国において簡易な手続で早期審査を受けられる「特許審査ハイウェイ」制度が試行されている（日米間：2006年7月～、日韓間：2007年4月～、日英間：2007年7月～）。そのほか、研究開発費用の総額の一定割合を税額控除する試験研究税制等の創設も行ってきたところである。