

# 医療系ベンチャーをイノベーションの牽引車に！

「規制から育成へ」「慎重からスピードへ」「マクロからミクロへ」

～ 「医療のイノベーションを担う  
ベンチャー企業の振興に関する懇談会」報告書 ～

2016年7月29日

厚生労働省

医療系ベンチャーをイノベーションの牽引車に！  
「規制から育成へ」「慎重からスピードへ」「マクロからミクロへ」  
～「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会」報告書～

目次

はじめに	1 頁
1. なぜ「医療系ベンチャー」の振興が必要なのか	2 頁
(1) 医療分野と日本の位置付け	2 頁
<世界的に巨大な成長市場…日本にとっての大きな可能性>	
<国内的にも重要かつチャレンジングな市場…大きな可能性と期待>	
(2) 鍵となる医療系ベンチャー	3 頁
<欧米では医薬品・医療機器等開発におけるイノベーションの中心…ベンチャーの役割>	
<日本では出遅れる医療系ベンチャー…そのポテンシャル開花の必要性>	
<日本における医療系ベンチャー振興の必要性…イノベーション促進と3類型>	
(3) 医療系ベンチャー振興の課題	5 頁
<医療系ベンチャー事業の特性…必要とされる高水準と多くのリスクと制約>	
<ベンチャー振興策の必要性…大きな意義とポテンシャル>	
2. 医療系ベンチャーの振興に向けて	8 頁
(1) 医療系ベンチャー振興の「目標（ゴール）」と「展望（ビジョン）」	8 頁
<「保健医療水準の向上」と「経済成長への貢献」の両立という目標（ゴール）>	
<「イノベーションの中心」と「好循環」の実現という展望（ビジョン）>	
(2) 振興方策に係る「3つの原則」と「3つの柱」	9 頁
<医療系ベンチャー振興に当たっての基本的な考え方>	
(3) 具体的な取り組み	12 頁
① エコシステムを醸成する制度づくり	12 頁
<革新的医療機器の早期承認支援…ベンチャーの成長に資する承認制度の重要性>	
<薬価・材料価格制度の検討…ベンチャーの成長を促す価格制度の必要性>	
<上市後のサポート…PMS支援の必要性>	

<海外展開の支援と輸出促進…海外展開の必要性と重要性>

<医療系ベンチャーへの投資促進>

② エコシステムを構成する人材の育成と交流の場づくり . . . . . 14 頁

<医療系ベンチャー幹部と大手製薬・医療機器企業幹部はじめキーパーソンとのマ  
ッチングを図る活動の実施>

<メンター人材の確保と紹介…人材登録とそのマッチング>

<人材の交流と流動化…人材流動化で目利き人材の育成>

<人材開発…若年世代からの育成と国際人材>

<発明環境づくり…知的財産や企業が生まれやすい環境の構築>

<海外とつながる…様々な工夫の必要性>

<新領域への拡大…新たなる分野への挑戦の促進>

③ 「オール厚労省」でのベンチャー支援体制の構築 . . . . . 17 頁

<厚生労働省及びPMDA、臨床研究中核病院にベンチャー支援体制を設置>

(別紙1) 開催要項・構成員名簿 . . . . . 19 頁

(別紙2) 開催経過 . . . . . 21 頁

参考資料 . . . . . 22 頁

専門用語及び略語解説 . . . . . 26 頁

# 医療系ベンチャーをイノベーションの牽引車に！

「規制から育成へ」「慎重からスピードへ」「マクロからミクロへ」

～「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会」報告書～

## はじめに

イノベーションはこれからの日本の経済成長の起爆剤である。ベンチャーは、そのイノベーションの成否の重要な鍵を握る牽引車である。

また、医薬品や医療機器の分野は、あらゆる人が享受する公共性を有しており、その進歩を促進することは「未来への投資」としての意義を有する。

その意味では、医療政策を担当する厚生労働省は、「経済の発展に寄与する」ことも任務としているのである。

厚生労働省は、その任を果たす観点からも、医薬品、医療機器及び再生医療等製品分野のベンチャー（医療系ベンチャー）を育てる好循環（エコシステム）の確立を図り、「保健医療水準のさらなる向上」と「経済成長への貢献」という二つの目標を同時に達成する途を拓いていくことを目指すべきである。

当懇談会は、厚生労働大臣の私的懇談会として2015年12月より開催され、医療系ベンチャーのエコシステムを確立していくための課題と対応方策について、計10回にわたって議論を行った。

その成果に基づき、厚生労働省における医療系ベンチャーの振興のための具体的な施策推進に当たっての基本的な指針となるよう、ここに本報告書を取りまとめるものである。

## 1. なぜ「医療系ベンチャー」の振興が必要なのか

### (1) 医療分野と日本の位置付け

<世界的に巨大な成長市場…日本にとっての大きな可能性>

医療分野は、世界的に「巨大な成長市場」である。

そこにおいて、日本は、今後世界の多くの国々で起きる少子高齢化という人口動態を先取りしている。また日本は、大学や研究機関等のシーズでは日本は世界で高い水準を誇っている。そのため、日本で実現されたイノベーションは新しい未来を切り開くことができ、全世界で受け入れられる可能性があると考えられる。

そして、現在すでにその状況は確実に生まれつつあるが、数十年後には、アジアを中心とする市場の割合がさらに急速に拡大していくことが予測される。そのようなビジネスポテンシャルが期待される中、日本は、医療分野において、アジアにおけるリーダーシップポジションを取れる可能性がある。

<国内的にも重要かつチャレンジングな市場…大きな可能性と期待>

現在、日本の保健医療水準は世界に誇るべきレベルにある。

しかし、今後、国内においてさらなる高齢化と人口減少が進む中、医療分野の技術革新の促進やITの活用等によって、予防の推進や健康寿命の延伸を図るとともに、持続可能な保健医療制度を構築し、就労可能な人口を維持していくことは、非常に困難かつチャレンジングな課題であるとともに、大きな可能性を生み出してくれる期待でもある。そのような課題や期待に対応していくためには、医療分野において、従来以上に大胆かつ果敢な挑戦をしていく必要がある。

誰もが人生のどこかで病に陥ることは避けられない。しかし、その病を克服していく医療にとって、医薬品・医療機器等の進歩は不可欠のものであり、その進歩を通じて、医療は一生涯を通じて人の幸福に大きく寄与できるものであることも忘れてはならないだろう。

以上のように、医療分野は、国内外において、他の産業分野と比べて勝るとも劣らぬ重要性があり、また成長と発展の大いなるポテンシャルがあると考えることができる。

## (2) 鍵となる医療系ベンチャー

### <欧米では医薬品・医療機器等開発におけるイノベーションの中心…ベンチャーの役割>

欧米のメガファーマにおいては、自社で一からバイオ医薬品を開発したケースは稀であり、当初アカデミアやベンチャー主体で取り組まれていたバイオ医薬品開発を、ある段階からメガファーマが取り込んでいくというケースも多い。実際、米国で承認される新薬の約半分は医療系ベンチャー由来となっていると言われている。このように、欧米では、製薬企業の分業化が進み、医療系ベンチャーが重要な鍵（キー）の役割を担っている。

また、医療分野以外において、人工知能（AI）、ビッグデータ（BD）、インターネット等の最先端技術を活用した製品が多く開発される中、それらの技術を活用して異分野の企業が医療分野への参入を試みるなど、医療機器や医療関連サービスにおいて、非常に大きな変革が起こりつつある。ここでも米国では、ベンチャー企業がイノベーションの中心であり、既存の大手企業はベンチャーとの連携を模索している。

このように欧米では、既存の大手企業からベンチャーへと、イノベーション創出のエンジンが移行している。

### <日本では出遅れる医療系ベンチャー…そのポテンシャル開花の必要性>

一方、日本は、これまでアカデミアにおける優れた基礎研究や、中小企業等が有するものづくり技術などの優位性を持ちながら、そのポテンシャルを十分に活かしきれていない。また、ノーベル生理学・医学賞を受賞された大村智教授の例のように、優れたシーズが国内にいくつも存在しているにも関わらず、それらが的確に活かされてこなかった事例もある。現実として、日本の医療系ベンチャーは、欧米に大きく出遅れており、医薬品・医療機器分野等での現時点での活躍はいまだ限定的である。

米国では、新薬、新しい医療機器・医療関連サービスの進化により、日本とは逆に、保健医療水準の向上、経済成長への貢献、輸出産業育成へつながっている。日本でも、医療系ベンチャーのポテンシャルを花開かせる振興策を大胆かつ積極的に打ち出し、事業環境を整備することで、現状を打破し、この分野における成長の起爆剤にできると言えよう。

### <日本における医療系ベンチャー振興の必要性…イノベーション促進と3類型>

バイオ医薬品の拡大や精密医療（プレジジョンメディシン）の進展など、今後の医薬品開発動向を踏まえると、企業内研究所におけるシーズの発掘には限界がある。

また今、日本では、政府が設定した後発医薬品（ジェネリック医薬品）の新しい使用促進目標の達成に向けて、医薬品市場の大変革が起こりつつある。国内市場において後発医薬品の普及が拡大すれば、先発医薬品市場は縮小してしまうことになる。そ

このように、市場縮小を回避し拡大していくために、先発医薬品メーカーは、新しい医薬品の開発を加速化すること、すなわちイノベーションを促進していくことが重要となる。

このような流れの中で、国内のアカデミアにあるシーズが、国内で有効に孵化されて、やがて国内外で実用化・事業化されるという姿を目指すことがますます重要となっており、その意味でも医療系ベンチャーの振興こそが喫緊の課題であると考えられる。

なお、医薬品・医療機器等は公共性を有する財であるにもかかわらず、日本の研究開発費に係る支援は日米比較等で見ても小規模にとどまっており、いま医療系ベンチャーの振興策への注力なしでは、明るい未来を期待し難い。

また、日本でベンチャーと言うと中小企業のイメージがあるが、欧米における実態において、「ベンチャー」とは冒険的、野心的な事業への挑戦者であり、新しい知識・技術を求めて創造的・革新的な事業を展開する存在である。その意味で、医療系ベンチャーの振興とは、医療分野におけるリーディングカンパニーの創生を目指すものと  
言うことができる。

なお、医療系ベンチャーの具体的なイメージとしては、主に次のような類型がある。

#### ① 自立発展型ベンチャー

自ら、あるいはオープンイノベーションにより探索したシーズをもとに、ベンチャーを起業し、当該シーズの事業化を成功させる。そして、その成功によって得た資金を活用して、さらに別のプロジェクトにトライするなど事業規模を拡大しつつ、自ら成長していくモデル。

#### ② 研究開発重点型ベンチャー

起業家が大学等の研究者や研究開発志向が強い場合。自ら発見したシーズについて一定程度研究が進んだ時点で、当該シーズを大企業に売却し、その売却資金を次のシーズ探索に充てることによって研究開発を続けていくモデル。

#### ③ 異分野参入型ベンチャー

IT、化学など医療とはまったく異なる分野において先端技術を有する企業・研究機関等が、当該技術を医薬品・医療機器等分野で応用してイノベーションを起こし、事業化に結び付けていくモデル。

医療系ベンチャー振興をしていく上では、一律ではなく以上のように異なる類型を視野に入れて、いずれの場合でも、切れ目のないサポートを実現していく必要がある。

### (3) 医療系ベンチャー振興の課題

＜医療系ベンチャー事業の特性…必要とされる高水準と多くのリスクと制約＞

イノベーションの実現には、イノベーションを理解する「人力」と「情熱」と「資金」の集中投下が必要である。

ベンチャー企業の成否は、その実現に情熱を持った少人数のトップレベルの専門的プロジェクトチームを組成し、リスクに見合うリターンを設計し、資金を投下し、イノベーションを実現するという、最も効率的な仕組みの設立運営にかかっていることは明らかであり、欧米ではそれが常識化している。

ベンチャー企業には多種多様なものが存在するが、特に医療系ベンチャーは、次のような特性を持ち、ベンチャー企業の中でもチャレンジ山積みなものとなっている。

#### ①高い科学・技術水準と開発リスク

医療分野は、人の健康・生命に関わる分野であり、古来より世界中で多くの人々が新発見、新技術の開発に取り組んできた分野でもある。医薬品開発の成功確率は、およそ3万分の1とも言われ、しかも難易度は上昇傾向にある。

このような分野でイノベーションを起こすには相当高度な科学・技術水準が必要であり、そのことは同時に高い開発リスクを伴うことを意味する。

#### ②承認までの時間の長さが必要資金の大きさ

医薬品の開発には、シーズの発見から動物・人への臨床試験、治験、薬事申請から承認に至るまで、10年以上もの時間を要する。また、このような長きにわたるプロセスを着実に継続するためには、それを支えるための多大な資金も必要となる。

#### ③医療・薬事・保険に係る規制への理解と対応

医薬品・医療機器等の開発から実用化に至るまでには、その各段階において医療や薬事、公的保険制度に係る諸規制への十分な理解が不可欠である。その点は、時に参入障壁として働く面があり、他の分野と大きく異なる点である。

#### ④特性に精通した人材確保の難しさ

以上のような医療分野の特性に精通し、事業をマネジメントできる人材を育てるには、コストと時間がかかる。このために、実績ある人材プールの成長速度は限定的とならざるを得ず、新たな起業家が生まれ育ちにくい。

＜小さな日本市場と大きな世界市場…海外展開の必要性＞

世界の医薬品市場を見ると、アメリカが世界市場の約4割を占め、日本は世界市

場の1割にすぎない。このことは、日本のベンチャーがアメリカのベンチャーと同等の開発リスクを日本国内開発で取り、投資を行い薬の承認をとっても、アメリカで承認を取った場合には世界の約4割の市場で販売できるのと比べると、投資効率に大きな差があることを意味する。

高い資金投資効率があれば、魅力的な投資回収のサイクルが可能となり、それに伴う人材の流動性や技術導出も上がり、開発スピードが上がっていくという正のスパイラルが生まれやすい。

日本のベンチャーが、このスピードに追い付いていくには、そのハンディキャップを超えるようなインパクトのある有効な施策を必要としている。そして、日本国内だけでなく、海外市場での展開も視野に入れておくことの意義が大きいことを示している。

#### <日本の「強み」と「弱み」・・・高い可能性とベンチャーの制約>

欧米では、医療系ベンチャーの活動により生み出されたイノベーションは、ベンチャー自ら承認を取り製造販売するところまでもっていく形で発展するか、既存の大手企業にライセンスまたは売却することによって、最終的に患者に届けられる。

そこでは、医療系ベンチャーの中から、上述のような特性をマネジメントして、創薬や医療機器等の開発を行い、市場の重要なポジションを獲得し、成長して大企業となるものも現れている。また、医療系ベンチャーが売却された場合、創業者をはじめとするマネジメントや、その企業で育った人材が次のイノベーションを実現する人材プールを提供し、新たなイノベーションを可視化する流れが生まれるサイクルがすでに存在している。

日本では、高度技術のベンチャーについて、「技術は一流、商売は二流」としばしば言われるが、医療以外の分野においては、商売も一流である企業は存在する。その意味から、ここでは、医療系ベンチャーをめぐる日本の「強み」と「弱み」を再度整理しておきたい。

#### ◇「強み」

##### ①高水準のシーズ

大学や研究機関等が有するシーズは世界でも高い水準を誇っており、欧米に劣ってはいない。

##### ②臨床研究の広がり

病院における医師による臨床研究が、欧米と異なり一般的に行われている。

##### ③優れたものづくり技術

中小企業等を含めて日本には優れたものづくり技術がある。このことは医療機器等の開発、実用化に活かせる可能性が大きい。

##### ④迅速な承認審査プロセス

薬事における承認審査プロセスの迅速化が進んでいる。特に、医薬品、医療機

器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器法）に再生医療等製品の特性を踏まえた規制が構築されたことにより、再生医療等製品については欧米を上回る迅速な承認審査が実現している。

#### ◇「弱み」

##### ①人材不足と低い人的流動性

日本は産学官を通じた人材の移動が活発ではない。そのことを背景に、医療系ベンチャーの起業家も少なく、ベンチャーにおける必要な人材の確保も困難である。

##### ②ベンチャーの資金的支援やインセンティブの低さ

日本のベンチャー投資は、米国の数十分の一と乏しく、特に医療系ベンチャーへの投資は慎重な傾向にあると言われている。また、政府や財団等による資金面でのベンチャー支援も弱い。さらに、欧米の大手企業のように、ベンチャーが開発した成果を高額で購入する事例も乏しい。

##### ③弱い海外とのつながりや交流

インバウンド・アウトバウンドの両面で海外との人的・資金的な行き来が少なく、つながりが乏しい。

##### ④ベンチャーに不利な規制や制度の存在

医療に関する制度やプロセスは大企業を念頭に置いて形成・運営されており、規制や制度などの仕組みの多くがベンチャー側から見れば厳しいものとなっている。

##### ⑤貧困なモデルケース

日本の医療系ベンチャーは、その活躍はいまだ少なく、インパクトも限定的であり、モデルケースが乏しい。例えばIT分野のように大小の各種イベントが活発に行われるようなことがなく、業界内のつながりが乏しいこともあり、活動が外からは見えにくい。

#### <ベンチャー振興策の必要性・・・大きな意義とポテンシャル>

日本では、現状を見る限り医療系ベンチャーのエコシステムが形成されているとは言えないが、このことは逆に、将来に向けて、先に示したような「弱み」を克服し、「強み」を活かすことができれば、ベンチャー振興を推進する意義と成長のポテンシャルが非常に大きいことを示している。

## 2. 医療系ベンチャーの振興に向けて

### (1) 医療系ベンチャー振興の「目標（ゴール）」と「展望（ビジョン）」

<「保健医療水準の向上」と「経済成長への貢献」の両立という目標（ゴール）>

医療系ベンチャーのエコシステムの確立・振興を図ることで、医療系ベンチャーがその牽引車となり、ベンチャー発のイノベーションを促進していく。

その意味で、医療系ベンチャーの振興の実現を目指すために、次のような目標（ゴール）を設定することとする。

#### ・「日本及び世界の保健医療水準の向上に寄与」

日本のベンチャー発の医薬品、医療機器及び再生医療等製品が、国内外で数多く上市され、日本及び世界の保健医療水準の向上に寄与する。

#### ・「日本経済の成長に貢献」

医薬品・医療機器等産業全体のエコシステムを作り、医療系ベンチャーが日本経済の成長に貢献する。

<「イノベーションの中心」と「好循環」の実現という展望（ビジョン）>

高く掲げた目標の成果をもたらす中身についてのイメージとして、目指すべき姿を展望（ビジョン）として次のように示しておく。

#### ・「イノベーションの中心」

魅力的な事業環境とエコシステムを整え、世界から優れた人材・企業が日本に集まる。そこから生まれるベンチャーがいくつも成長し世界に羽ばたく。このため、予見可能性、透明性及びスピードの面で、世界で最も優れた事業環境を備えた国を目指す。

なお、これは日本国内に閉じたものではなく、オープンなイノベーションの中心として発展することを志向する。

#### ・「好循環」

優れた研究などシーズが、ベンチャーとして事業化され世に出る。大きく成長するベンチャーが育つ。ベンチャーと連携あるいは買収して発展する大企業が増える。

こうしたベンチャーが牽引車となるイノベーションの好循環が生まれ、それを高め加速していく。

## (2) 振興方策に係る「3つの原則」と「3つの柱」

＜医療系ベンチャー振興に当たっての基本的な考え方＞

ここでは、これまで論じてきたことを踏まえて、日本において、医療系ベンチャーを振興していく上での基本的考え方を述べておきたい。

医療系ベンチャー振興のための方策を提示する場合に重要なことは、前提となる医療制度の国ごとの相違等を踏まえ、日本の実情に即したものでなければならない。

その際、以下のような「3つの原則（パラダイムシフト）」と「3つの柱」に沿った具体的な取り組みが必要であるとする。

### 「3つの原則（パラダイムシフト）」

- ①「規制から育成へ」
- ②「慎重からスピードへ」
- ③「マクロからミクロへ」

### 「3つの柱」

- ①「エコシステムを醸成する制度づくり」
- ②「エコシステムを構成する人材の育成と交流の場づくり」
- ③「『オール厚労省』でのベンチャー支援体制の構築」

次に、これらの「原則」及び「柱」に関して、より詳しく説明しておく。

### 「3つの原則」

日本では、これまでもベンチャー振興の必要性が繰り返し叫ばれてきた。だが、その振興がこれまで成功したことはない。それは、ベンチャーに対するパラダイムの転換がなされていないからである。また関係者間でその転換への意識が共有されておらず、また、ベンチャー成功の姿が具体的に提示されてこなかったからである。

そのような状況認識に基づき、医療系ベンチャーの振興のために、大胆かつ積極的なパラダイムシフトがなされなければならない。そのパラダイムシフトは、次の3つのポイントから構成される。

### ①「規制から育成へ」

これまでの厚生労働省は、医薬品・医療機器等の分野では、まず安全性や有効性の確認を優先し、それらに係る規制を企業に厳格に遵守させるという意識が先行してきた。このような姿勢や対応は、ベンチャーの振興発展において少なからず障害になってきた。

今後は、適正な規制が産業の健全な発展を支える基盤・インフラであることを認識しながら最適な規制を目指すとともに、新たな事業やベンチャーの特性と可能性を理解し、その取り組みを支援、育成し、成長を促していくという視点に大きく変えていかなければならない。その視点から、様々なステークホルダーを説得して、各種施策を展開していくこととする。

### ②「慎重からスピードへ」

ビジネスの成功には、機を逃さないスピードが不可欠である。ましてベンチャーは、いまだ確立していないビジネスや商品を、リスクをとって創り出していく存在であり、何事にも慎重を期するような姿勢だけでは、育とうという芽を摘むことになりかねない。ベンチャーの振興には、スピード感を持った取り組みが必要である。

日本が医療系ベンチャーにおける立ち遅れを取戻し、欧米に追い付くためには、スピードと柔軟性を重視しつつ、高い理想の実現に向けて、大胆かつ有効な施策を実施していくことが求められる。

### ③「マクロからミクロへ」

ビジネスのシーズは多種多様である。特にベンチャーは、特定の型にあてはまらないシーズを対象としている場合も多い。大企業とベンチャーを同様に扱うマクロ的発想で施策を講じても、ベンチャーのニーズに即した振興は行えない。ベンチャーをはじめとする企業が、個々の個性を発揮できるように、特性に応じたミクロの視点からも、各種施策を展開していかなければならない。

なお、単にベンチャー企業数を増やすのではなく、ベンチャー企業群によるインパクトの総和の最大化を目指すことが重要である。したがって、単なる一律の補助ではなく、有望なベンチャーに未来への投資として支援をすることが大切である。

## 「3つの柱」

3つの原則を踏まえたパラダイムシフトを実現すべく、既存の枠組みを超えたベンチャー振興策を実行し、医療系ベンチャーのエコシステムを醸成する。言い換えれば、国際競争にも勝ち抜いていけるイノベーションが起きやすい事業環境を実現しなければならない。

さらに、ICTなどの技術を医療分野で積極的かつ有効に活用する途を探るなど、

視野を広げたイノベーション推進が重要である。

### ①「エコシステムを醸成する制度づくり」

研究開発段階から実用化段階に至るまでの間に、承認や価格などそれぞれの段階に応じた規制等の障壁が存在する医療系ベンチャーの事業プロセスは、他の分野と異なり複雑である。

2013年に医薬品医療機器法に再生医療等製剤の特性を踏まえた規制が構築されたこと等により、日本で再生医療製剤の実用化までの期間が短縮された結果、海外からの参入も含めて、内外の企業による取り組みが加速し、日本が再生医療の世界の拠点になっている。医薬品・医療機器についても、ベンチャーのエコシステムを醸成するためには、ベンチャーの各成長段階のニーズに応じて、レギュラトリーサイエンスに基づき、より早期に承認・保険収載まで到達できるような制度の整備が必要である。

### ②「エコシステムを構成する人材の育成と交流の場づくり」

「種を育てるには土づくりから」と言われるが、残念ながらいまの日本には医療系ベンチャーにとって、エコシステムと呼べるほどの場ができていない。しかし、ピンチはチャンスでもあり、未来志向で、ベンチャーの活躍によってイノベーションを活性化するための土壌づくりを推進したい。

研究段階を担うアカデミア、製造販売等を担う大手企業、規制や保険制度等を運営する行政が連携しながら、ベンチャーを取り巻く多様なステークホルダーの結び付きによるポジティブなスパイラルを産み出していくことが重要である。

そして、エコシステムは人こそが命とも言われるように、人材の育成・活用は重要である。人材を引き寄せ確保し、交流や流動を促進すること、さらに人材開発に取り組む必要がある。

さらに、エコシステムを従来の範囲にとどめず、未来に向けて、海外とつながり、新領域へと成長・発展することが求められる。

### ③「『オール厚労省』でのベンチャー支援体制の構築」

本格的なベンチャー振興プログラムを起こす厚生労働省は、旗を掲げるのみに終わることなく、しっかりと結果を出していくべく、医療系ベンチャー振興の施策を企画・実行・モニタリングする体制を設け、また主要機関にベンチャー支援の組織体制を整備し、継続的にベンチャー支援・振興への取り組みを充実させるべきである。

もちろん、新設部署だけでなく、「オール厚労省」としてベンチャー振興策に取り組むのであり、それら部署は関連組織をベンチャー支援へと動かすチェンジエージェントの役割も担わねばならない。

### (3) 具体的な取り組み

#### ①エコシステムを醸成する制度づくり

##### <革新的医療機器の早期承認支援…ベンチャーの成長に資する承認制度の重要性>

医療系ベンチャー等が開発した革新的な医療機器は、高い有効性・安全性があると期待されるが、患者数が極端に少ないことが多い。その場合、治験症例の収集に相当な時間を要する等の理由により開発が進まないことがある。

このような現実を踏まえ、国民に革新的な医療機器を迅速に供給する観点からも、これらの臨床開発に困難を伴う医療機器について、市販前の臨床試験実施に係る負担を最小化し、市販後の調査をより充実させることにより、革新的な医療機器の早期承認を行う制度（「革新的医療機器早期承認制度」）を構築していくべきである。

##### <薬価・材料価格制度の検討…ベンチャーの成長を促す価格制度の必要性>

日本の国民皆保険制度の下では、薬事承認された医薬品等は、迅速に保険収載され、全国どこでも保険診療で使用できるというアクセスの良さと公平性が確保されているというメリットがある。

一方、米国では日本のような国民皆保険制度はないが、メーカーが自由に価格を設定することができることが医療系ベンチャー企業の収益にとって有利に働くことで、結果としてイノベーションが促進されている。また、米国では日本と同様に承認までのコストを比較した場合、人口が日本の2.5倍であることからより投資効率が高いとも言われている。

また、日本では、国民皆保険制度の下で、保険収載された医薬品はすぐに全ての国民がメリットを享受しうることから、市場に展開されるスピードはより速く、迅速に投資の回収を図りうる可能性もある。

このような中、これからの医薬品・医療機器等の研究開発においては、遺伝子解析等による新規の創薬標的の探索に基づく新薬開発など、マーケットセグメンテーションが主流となっている。こうした状況の下、イノベーションを生み出していくには、機動性かつ迅速性のある研究開発が不可欠であり、このためには、ベンチャー企業が重要な役割を担っている。

#### a. イノベーションを評価する薬価制度の構築

旧来の薬価制度が、画期的なイノベーションを生み出すような投資を促進するような環境を必ずしも重視してこなかった点も十分に踏まえ、

- 1) 医療系ベンチャーの費用構造を含む実態を調査した上で、その特性に対応した薬価における評価、

2) 既存治療では難しい重篤な疾患の治癒が期待できる薬剤について、長期的な高い費用対効果を踏まえた、既存の画期性加算では十分に評価できていなかったイノベーションに対する新たな上乘せの評価(評価に時間を要する場合は、一旦上市した上で、追加的なデータに基づいて、薬価を引き上げることの検討も含む。)

などを、中医協のワーキンググループにおいて検討し、例えば、革新的な抗体医薬品など、研究開発や製造が高コストになる傾向がある場合でも、市場における高付加価値が反映されることで、これら費用の増高に十分に見合った評価を得ることも含め、薬価制度を時代に即応し、イノベーションを促進するものとするべきである。

#### **b. 承認審査・相談料の減免や開発助成の強化**

さらに、収益の上がっていない医療機器ベンチャーに対するPMDAの承認審査・相談料の減免を再生医療ベンチャーにも拡充するほか、オーファン疾患に対する開発助成を増額すべきである。

#### **<上市後のサポート…PMS支援の必要性>**

事業規模の小さい医療系ベンチャーにとって、上市後に必要とされる市販後調査(PMS)は多大な負担となっている。

#### **a. 電子的な臨床データ等を活用したPMSの推進**

この点を踏まえ、PMDAにおいて、電子的な臨床データ等を活用した、レギュラトリーサイエンスに基づくPMSの推進を図ることが必須であり、そのためにも医療情報データベース基盤整備事業(MID-NET事業)やクリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)の推進が求められる。

現状はデータのフォーマットが統一されていないが、既存プロジェクトとも連携し、疾患領域別にCINの3年以内のフォーマット統一を目指すべきである。

#### **b. CINにおける疾患別レジストリの整備の推進**

また、ベンチャー企業にとっては、難病や希少疾病といったニッチな疾患分野から開発に着手することが成功の秘訣であるため、そのような研究開発を支援するため、CINにおける疾患別レジストリの整備を進めるべきである。

#### **c. 資金面の支援**

さらに、PMSに関しては、開発助成も含めて、承認後、当該企業に必要な資金需要を満たすなどの支援が考えられる。

#### **<海外展開の支援と輸出促進…海外展開の必要性と重要性>**

医薬品・医療機器等の分野は、貿易収支において輸入超過になっている。貿易赤字の縮小という観点からも、医療系ベンチャーの海外展開を積極的に推進すべきである。

#### a. 国際薬事相談などで海外展開の支援

厚生労働省に設置する「ベンチャー等支援戦略室（仮称）（後述）」のコーディネーターの下、海外の薬事規制等について厚生労働省やPMDAが把握している情報の提供などを行い（「国際薬事相談」）、海外展開を支援すべきである。

#### b. ニーズや状況に応じたエビデンス構築を目指した研究開発の促進

先進国のみならず、途上国に対して現地のスペックに適した研究開発、また現地での薬事承認を受けるためには、人種や環境等を考慮したエビデンス構築を目指した研究開発を促進すべきである。また、国内未承認の段階でも、当該市場で治験や販売を先行させることもベンチャーの一つの戦略として情報提供・経験の共有化などを支援する。

#### <医療系ベンチャーへの投資促進>

医療系ベンチャー企業は長期にわたり多額の資金が寝るという特性を有しており、このため、この分野でのベンチャーキャピタルや投資家が日本には乏しいという問題がある。これを補うため、例えば、ベンチャーへの投資促進のための税制や会計基準等の改善について関係省庁が連携して対応すべきである。

### ②エコシステムを構成する人材の育成と交流の場づくり

#### <医療系ベンチャー幹部と大手製薬・医療機器企業幹部はじめキーパーソンとのマッチングを図る活動の実施>

ベンチャー振興において、エコシステムの形成は最も重要な課題である。特に医療系ベンチャーにとっては、大手製薬・医療機器企業などの事業・開発のパートナーを獲得することは死活問題であり極めて重要性が高い。もっとも、日本の現状は医療系ベンチャーに関わる人的なネットワークが分散しているという大きな問題がある。

この問題解決にはパートナー候補とのマッチングをはじめとするエコシステム形成の活動が必須であり、厚生労働省に設置する「ベンチャー等支援戦略室」は、そうした活動の司令塔としてリーダーシップを発揮することが不可欠である。

第一に、厚生労働省が主導で大手製薬・医療機器企業など事業・開発パートナー候補の幹部（意思決定者）と医療系ベンチャー幹部との個々のマッチングを行うことが必要である。大企業にベンチャーをマッチングさせる工夫が大切であり、個別紹介のほかイベントへの商談ブース出展などの機会づくり、提携や買収したくなるプレゼンテーション等の向上支援を行う。さらに、医師主導の治験や臨床試験を実施している優れた研究者にも同様のマッチング・サポートを行う。

第二に、大手企業、金融機関、研究機関や医療機関などのキーパーソンとベンチャーのマッチングに資するイベント等の活動を行うことが効果的である。このため、厚生労働省やPMDA等が後援するイベント「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット」（仮称）を開催する。また、優れた人材・ベンチャーと国内外から引き寄せ、それらによるイノベーション創出を喚起するため、賞を設けたコンテスト（「ジャパン・ヘルスベンチャー・グランプリ・コンペティション」（仮称））などを試みる。

第三に、情報技術ほか他分野との組み合わせによる製品・サービスが増えることが予想されるが、これらも含めた、エコシステムの創造・発展を促すことが必要である。

### <メンター人材の確保と紹介…人材登録とそのマッチング>

医療系ベンチャー企業にアドバイスをを行うメンターとなる人材を確保するため、医薬品・医療機器メーカーのOBや、病院・大学での研究開発経験者など、医薬品・医療機器等の開発から実用化の各段階で生じた様々な課題などに関して、豊富な知見（知的財産、薬事・保険、経営等）を有する者や、グローバル市場への進出・普及に至るまでの実務的な経験を有する者など国内外の人材を登録し、各ベンチャーのニーズに応じてマッチングを実施する。その効果を上げ、国内外での波及効果があがるようにするために、単なる名簿ではなく内容情報を伴う英和文両語のデータベースとし、さらにコーディネーターによる評価・選択を行い、メンターへの動機付けやベンチャー側の受け入れ方・活用法の啓蒙を推進する。さらに、これに慣れたメンターやベンチャーは、自発的につながるコミュニティ化を図る。本活動は「ベンチャー等支援戦略室」がリーダーシップをとり、直ちに着手すべきである。

### <人材の交流と流動化…人材流動化で目利き人材の育成>

医療系ベンチャーの分野でのベンチャーキャピタルや投資家、金融機関におけるアナリストなど、医療系ベンチャーと金融部門との橋渡しを行える「目利き」が、日本には不足しているという問題がある。

これを打開するために、例えば厚生労働省やPMDAでキャリアを積んだ専門人材などを対象として金融機関や世界最先端のベンチャー等との間で人材交流（移籍、出向）を行っていくことにより、多様なキャリアデベロップメントを図りうる環境を整備していく必要がある。官民人材の流動性がこの分野の技術評価には極めて重要であり、こうした人材交流の促進により、人材の市場価値の向上とともに、金融部門による専門分野の見極めを促進することにつながる。

### <人材開発…若年世代からの育成と国際人材>

エコシステムの発展には人材の育成が不可欠であり、特に、以下に掲げる新分野や海外への展開のための人材育成策が必要である。

#### a. 高度研究開発人材の育成

高度研究開発人材の若年のうちからの育成。例えば、高校や高専や大学の工学系学部などに医療・ヘルスケアテクノロジーに関する教育を組み込む。

## b. 国際人材の育成・活用

日本における国際人材の育成（海外機関企業への派遣、留学など）及び海外人材の活用を積極的に行う。

### <発明環境づくり…知的財産や企業が生まれやすい環境の構築>

日本の医療分野のアカデミアでは、知的財産や起業の方法等についての情報・知識を得る機会が乏しく、これが発明を活かすことや医療系ベンチャーの立ち上げを困難にしている面がある。研究者向けにヘルスケア分野での知的財産の保護方法と非臨床試験から臨床試験によるPOC取得までの事業戦略に関する研修プログラムを作成し、研究事業への応募の際に活用すべきである。

### <海外とつながる…様々な工夫の必要性>

厚生労働省が2015年6月に公表した提言書「保健医療2035」は、「グローバルヘルスリーダー ～日本が世界の保健医療を牽引する～」とのビジョンを掲げているが、医療系ベンチャーの振興においても、国際的な視点は不可欠である。

イノベーションの速度は加速化を続ける一方であり、将来への道を開くために、シリコンバレーをはじめ世界の他地域に展開するイノベーションの極とつながり、化学反応を起こす、絶え間ない努力が重要となる。

## a. 海外人材を活用した国際的な視点や人材の育成

上記のために、具体的には、次のようなことを行っていく必要があり、加えて上述の、「ヘルスケアベンチャー・サミット」にも、多くの海外人材が参加するようにし、彼らとの交流を重ねていけるように配慮する。

- ・ **海外との連携強化**…海外の医療・ヘルスケア系研究機関やスタートアップ振興組織と厚生労働省や民間組織の情報交換や共同作業に取り組む。速やかに、主要機関・組織とのパートナーシップを確立する。
- ・ **国際共同創業の促進**…海外の医療・ヘルスケア系スタートアップの国際共同創業の促進。創業への日本側からの支援等の具体的施策を立案し速やかに施行し、柔軟に改善していく。

## b. 日本版「パテントボックス制度」の創設

さらに、イギリスに例が見られる知的財産保有企業を優遇する「パテントボックス制度」（ペーパーカンパニーではなく実態を伴うことを要件に開発投資減税や知財関連の税控除を認める）を日本でも認めることで、逆に海外からの先進技術を開発して

いる企業が日本に登記を行うなどのメリットが想定される。これは国内企業の育成のみならず、人材を海外から呼び込む効果が期待される。

### <新領域への拡大…新たなる分野への挑戦の促進>

「保健医療2035」では、「保健医療分野のイノベーションを促すためには、基礎・臨床医学だけでなく…（中略）…行動科学、工学などにおける、あらゆる知見を分野横断的に結集し活用する必要がある。」と記されており、「情報基盤の整備と活用」においてICT等の活用によるイノベーション促進を唱えている。

2035年を待たず、既存の医薬品・医療機器等の枠組みを超えるものや、医薬品・医療機器等とICT等の技術やサービスの新たな結合による革新など、新分野のポテンシャルを追求し、エコシステムに組み込んでいく。

医療系ベンチャーが、これまでに取り組まれてこなかった研究開発分野等に積極的に挑戦していくことを促進するために、例えば、革新的な医薬品・医療機器等の研究開発に取り組む医療系ベンチャー等に対して、「評価手法の研究支援」を行うことや、「IT技術を用いた医療機器に係る相談体制」の強化、「電子的な臨床データ等を活用した開発支援」の推進などを図るべきである。

### ③「オール厚労省」でのベンチャー支援体制の構築

#### <厚生労働省及びPMDA、臨床研究中核病院にベンチャー支援体制を設置>

医療系ベンチャーの振興を進めていくためには、司令塔からイノベーションを担う現場に至るまで、一貫した支援体制の構築が必要である。今回の議論を一過性のものとし、「オール厚労省」での医療系ベンチャー支援体制の構築が求められる。

#### a. ベンチャー等支援戦略室等の新設

そのためにも、まずは第一に、医療系ベンチャー等の振興を進めていくための司令塔機能として、厚生労働省内に医療系ベンチャー振興施策の企画・実行・モニタリングを行う組織（「ベンチャー等支援戦略室」（仮称））を1年以内に設置すべきである。この観点からも、医療系ベンチャーの担い手からは、臨床開発、薬事承認、保険収載の流れの中で、関係部局・機関の相談窓口がバラバラに分かれているため、事業戦略を俯瞰した形での一貫した相談が行えないという課題が聞かれていることから、「ベンチャー等支援戦略室」は、省内関連部局や下記に掲げるPMDAや臨床研究中核病院等とも連携し、コーディネーターとして取りまとめ機能を発揮することにより、ベンチャー企業や新規参入企業等からの総括的な相談（「薬事・保険連携相談」）の窓口としても機能することが必要である。

第二に、PMDAにも医療系ベンチャーを含めた小規模事業者が持っているシーズの実用化を支援する室を1年以内に設置すべきである。これにより、医療系ベンチャ

一に対するPMDAの薬事戦略相談の体制強化を図ることで、例えばAMED採択の段階から研究事業の実施に至るまで、ベンチャー企業が適時適切に薬事戦略相談を活用できるようにする。

第三に、よりイノベーションの現場に近い臨床研究中核病院にもベンチャー支援部門を設置し、全国でよりきめ細かな支援体制を構築すべきである。

こうした各段階での窓口については、医療系ベンチャーの長期的・継続的な支援を行うとともに、医療系ベンチャーのエコシステム整備に向けた人的なネットワーク形成を図る観点から、同部署には外部人材の活用も含め専任の担当者を置くとともに、短期の人事ローテーションとしないことが求められる。

また、「オール厚労省」でのベンチャー振興を推進し、民や海外の力をも十二分に活用して新たな支援戦略や人的ネットワークを構築していく観点から、「a. 継続的に出会いと対話が生まれるコミュニティづくり（例えば、「ヘルスケアベンチャー・サミット」を毎年開催するなどの場づくり）」、「b. さらなるサポート体制づくり」、「c. 施策や相互理解のためベンチャーの担い手とのコミュニケーション強化」といった点で役割を発揮することが期待される。

#### **b. ベンチャー支援施策に対するPDCAサイクルの構築**

こうした体制整備については、医療系ベンチャー支援施策等の有効性について相談者等からのアンケート結果を大臣に報告、公表することにより、厚生労働省設置法に掲げられた任務（「国民生活の保障及び向上を図り、並びに経済の発展に寄与」）に照らした施策の有効性を検証し、改善につなげていくPDCAサイクルを構築する必要がある。

また、本報告書で指摘した取り組みについても、単に一時的な打ち上げ花火で終わることのないよう、医療系ベンチャー、ベンチャーファンドその他産学官関係者による協議の場（医療系ベンチャー振興推進協議会（仮称））を設けるとともに、毎年、本報告書の実行状況をチェックし、必要に応じて新たなアクションプランを作成するというPDCAサイクルを回すべきである。

(別紙1)

## 医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会 開催要綱

### 1. 開催の趣旨等

日本は世界で数少ない新薬創出国であり、知識集約型産業である医薬品産業は経済成長を担う重要な産業として期待されている。一方で、創薬を巡る国際競争は厳しさを増すとともに、再生医療、ゲノムなど革新的技術の開発・普及が進んでいる。創薬大国である米国では、FDA優先審査対象新薬の半数以上がベンチャー起源となっている。また、3Dプリンター等の製造技術の革新、ロボット技術、通信技術等新たな技術革新・普及等により、医療機器分野においてもベンチャー企業が活躍している。そのため、日本でも、アカデミア等で発見された優れたシーズの実用化を促進するために、医薬品・医療機器分野のベンチャー（医療系ベンチャー）を育てる好循環（ベンチャーのエコシステム）の確立を図ることが必要である。

このような観点から、医療系ベンチャーに関する自由な意見交換を行うことを目的として、厚生労働大臣の私的懇談会として「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会（以下「懇談会」という。）」を開催し、医療系ベンチャーの育成方策等について議論することとする。

### 2. 検討事項

医療系ベンチャーの育成に係る課題や解決策について自由な議論を行い、医療系ベンチャーの育成方策等に関する提言をとりまとめる。

### 3. 構成員及び運営

- 懇談会の構成員は、別紙のとおりとする。
- 懇談会の庶務は、医政局研究開発振興課及び経済課で行う。
- その他、懇談会の運営に必要な事項は、懇談会で定める。

医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会  
構成員名簿

うちだ たかひろ  
内田 毅彦 株式会社日本医療機器開発機構 代表取締役

おおたき よしひろ  
大滝 義博 株式会社バイオフィロンティアパートナーズ 代表取締役社長

かぎもと ただひさ  
鍵本 忠尚 株式会社ヘリオス 代表取締役社長

くちいし こうじ  
口石 幸治 株式会社サイフューズ 代表取締役社長

こうじ ともたか  
郷治 友孝 株式会社東京大学エッジキャピタル 代表取締役社長

しおむら じん  
塩村 仁 ノーベルファーマ株式会社 代表取締役社長

そん たいぞう  
孫 泰蔵 M i s t l e t o e株式会社 代表取締役社長

なかとみ いちろう  
中富 一郎 ナノキャリア株式会社 代表取締役社長

にしむら ゆ み こ  
西村由美子 メディカル・ジャーナリスト

ほんくら としひこ  
本蔵 俊彦 クオンタムバイオシステムズ株式会社 代表取締役社長

座長 ほんじょう しゅうじ  
本 荘 修二 本荘事務所 代表

もり けいた  
森 敬太 サンバイオ株式会社 代表取締役社長

(別紙2)

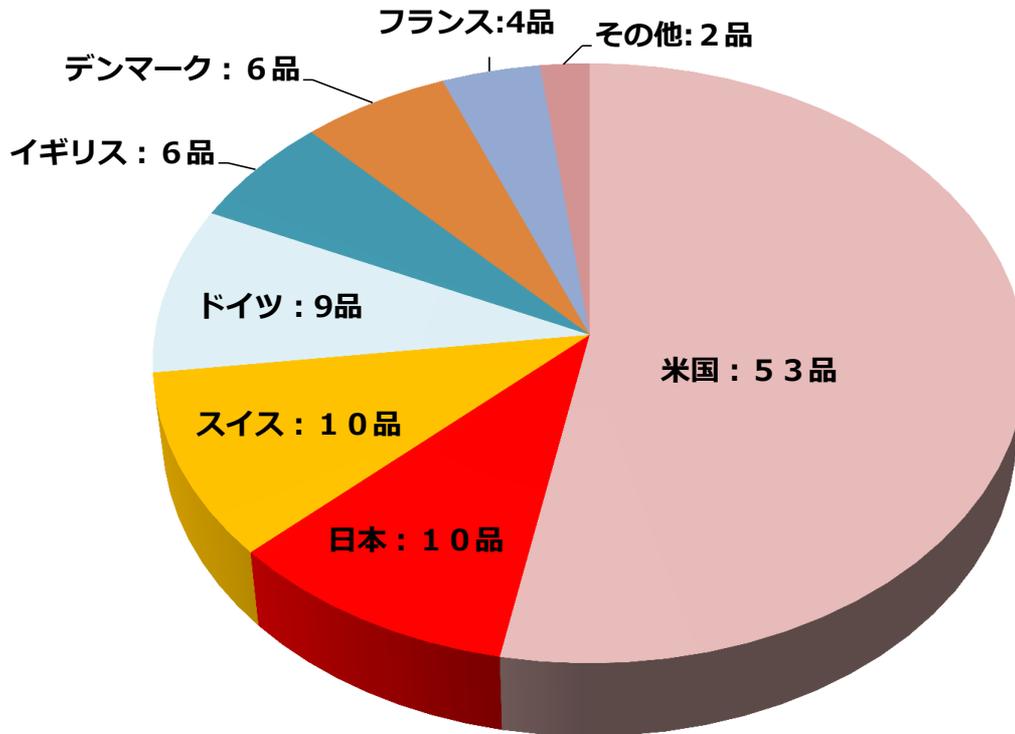
医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会  
開催経過

第1回	平成27年12月25日
第2回	平成28年 1月28日
第3回	平成28年 2月23日
第4回	平成28年 3月14日
第5回	平成28年 3月22日
第6回	平成28年 4月 6日
第7回	平成28年 4月26日
第8回	平成28年 6月29日
第9回	平成28年 7月14日
第10回	平成28年 7月29日

## 参考資料

1. 主要国別オリジン新薬数  
(2013年：世界売上上位100品目)
2. 世界大手製薬企業・医療機器企業の売上高  
(2014年)
3. 世界売上上位10品目におけるバイオ医薬品の推移
4. 日米欧主要製薬企業における創薬ベンチャー起源の  
開発品目数
5. 製薬企業の開発品目の起源別構成
6. 医療用世界売上上位 1 5 0 品目の主要 5 か国における  
上市順位 (2013年)

# 1 主要国別オリジン新薬数（2013年：世界売上上位100品目）

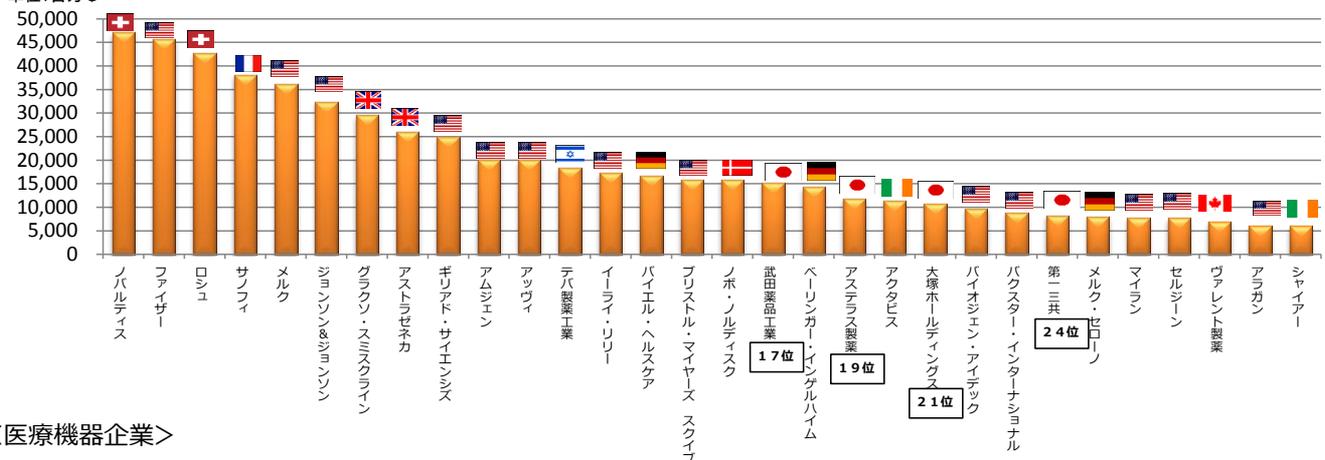


出典:Pharma Future, No.287, May 2014 Published by Cegedim Strategic Data

# 2 世界大手製薬企業・医療機器企業の売上高（2014年）

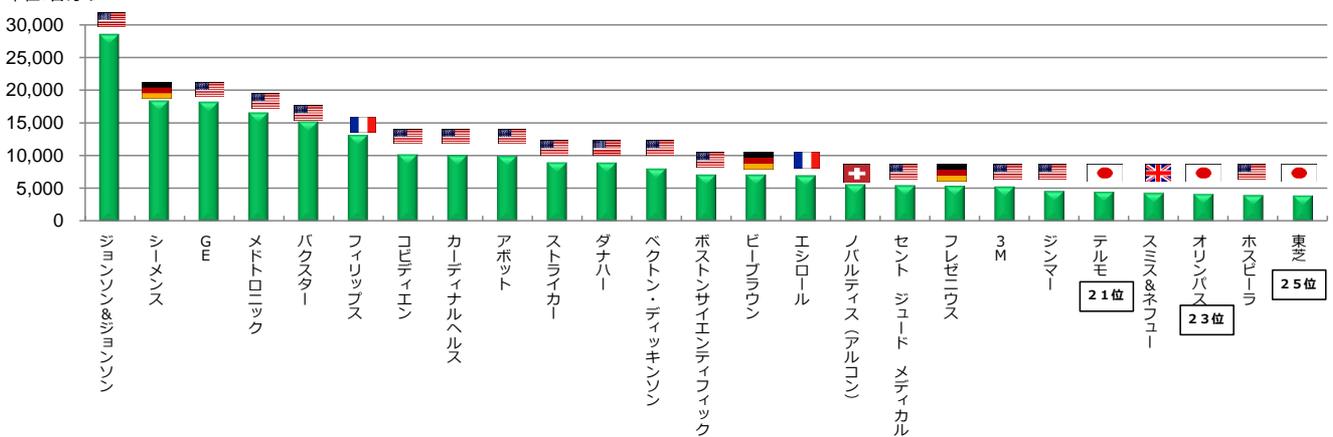
## <製薬企業>

単位：百万\$

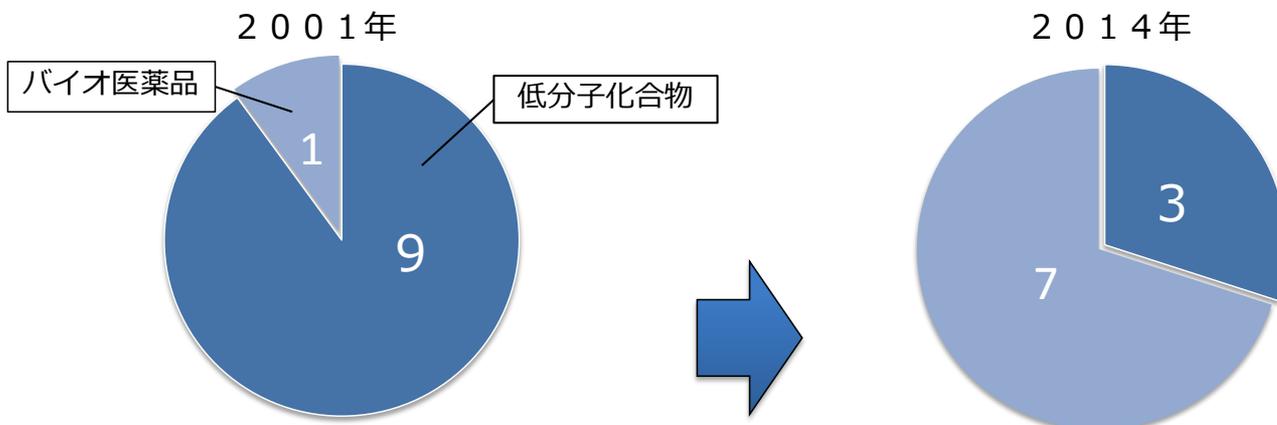


## <医療機器企業>

単位：百万\$



### 3 世界売上上位10品目におけるバイオ医薬品の推移



製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)
1 ソコール(リボバス)	高脂血症薬	メルク	6,670
2 リビトール	高脂血症薬	ファイザー	6,449
3 オメプラール/ プリロセック	抗潰瘍剤PPI	アストラゼネカ	5,684
4 ルバスク	降圧剤Ca拮抗剤	ファイザー	3,582
5 メパロチン/ プラバコール	高脂血症薬	三共/BMS	3,509
6 プロクリット/ エプレクス	腎性貧血	J&J	3,430
7 タケプロン	抗潰瘍剤PPI	武田薬品/ TAP	3,212
8 クラリチン/D	抗ヒスタミン剤	シュering・プラウ	3,159
9 セレブレックス	Cox2阻害剤	ファルマシア	3,114
10 シプレキサ	精神分裂病薬	イーライ・リリー	3,087

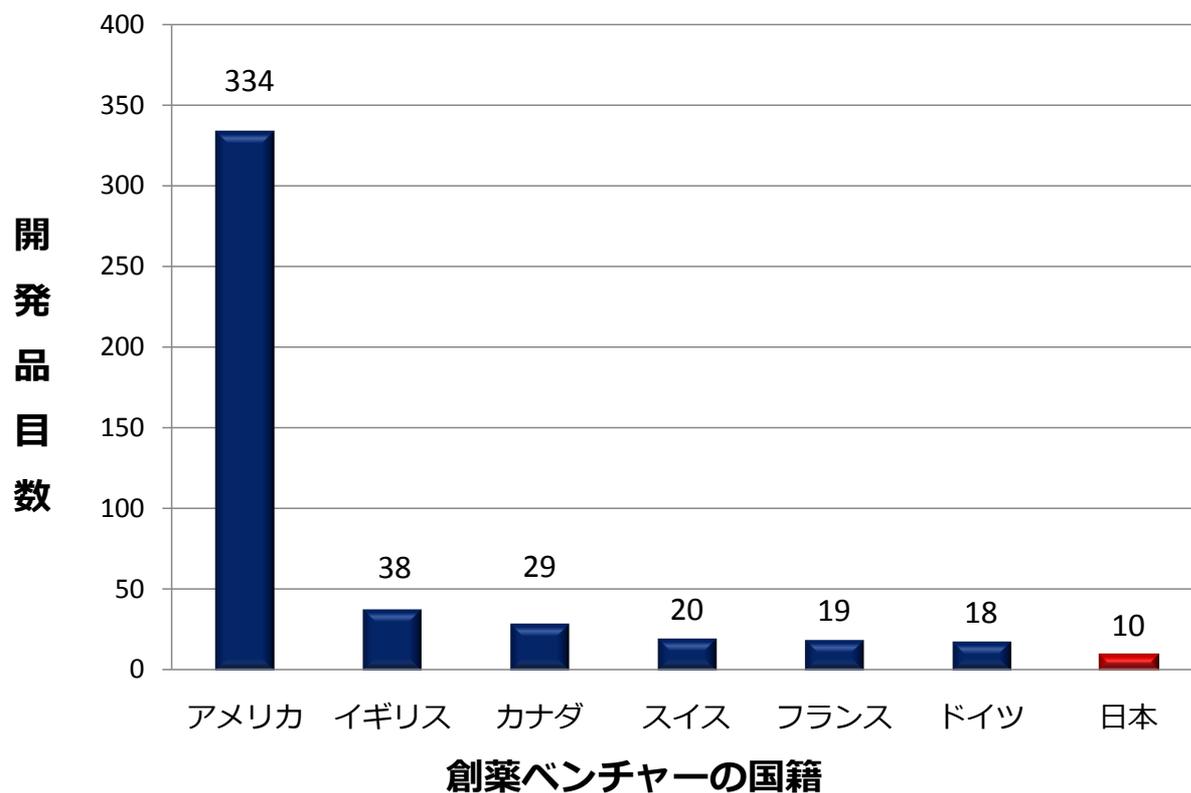
製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)
1 ヒュミラ	関節リウマチ/ クローン病	アッヴィ/イーザイ	12,902
★ 2 ソバルデイ/ ハーボニ	慢性C型肝炎	キリアド・サイエンズ	12,410
★ 3 レミケード	関節リウマチ/ クローン病	J&J/メルク /田辺三菱	9,909
★ 4 エンブレル	関節リウマチ/ クローン病	アムジェン /ファイザー/武田	8,927
★ 5 リツキシサン	抗がん剤/ 抗リウマチ	ロシュ/バイオジェン	8,744
6 ランタス	糖尿/インスリンアナログ	サノフィ	8,432
★ 7 アバステン	転移性結腸がん	ロシュ /中外製薬	7,021
★ 8 ハーセプチン	HER2乳がん	ロシュ /中外製薬	6,865
9 アトエア/ セレタイド	抗喘息/COPD	GSK/アルミラル	6,620
10 クレストール	高脂血症 /スタチン	塩野義 /アストラゼネカ	6,372

※ 黄色がバイオ医薬品

※ ★はベンチャーオリジンの医薬品

出典: セジテム・ストラテジックデータ(株)ユート・ブレイン事業部刊「Pharma Future2002No.136」、「Pharma Future(2015年5月号)」をもとに厚生労働省作成

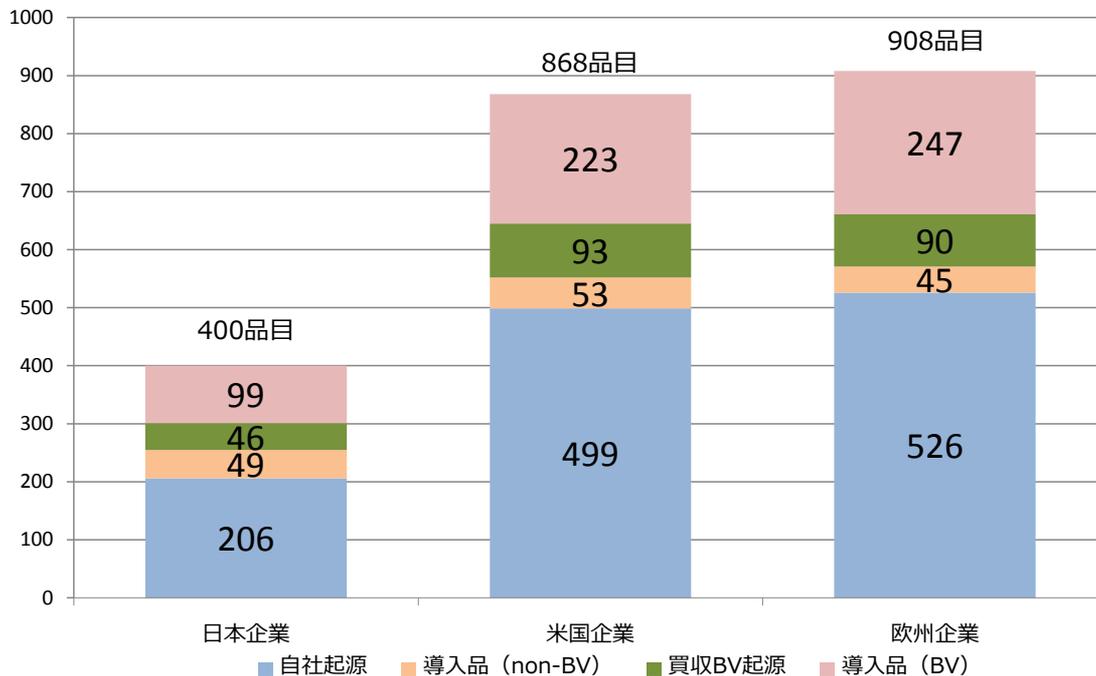
### 4 日米欧主要製薬企業における創薬ベンチャー起源の開発品目数



出典: 医薬産業政策研究所リサーチペーパーNo. 48

「製薬企業とバイオベンチャーとのアライアンス - 日米欧製薬企業の比較分析 -」(2009年)

## 5 製薬企業の開発品目の起源別構成



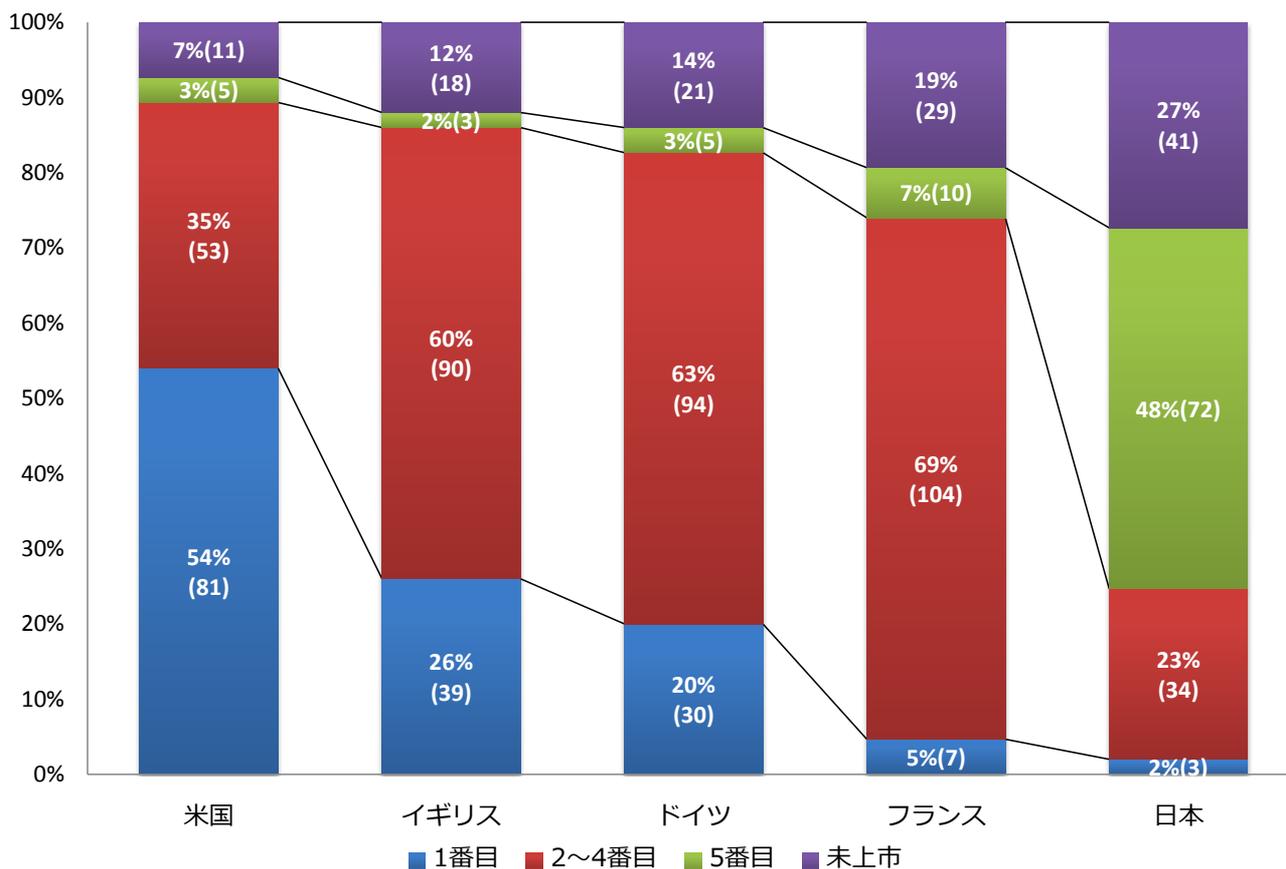
※ 前臨床から承認までの品目数

- ・BV : 創薬ベンチャー
- ・non-BV : 創薬ベンチャー以外(主として製薬企業)
- ・自社起源 : 製薬企業が自社で創出した品目であり、買収した企業(BVを除く)及び大学等のアカデミアからの導入品目も含む
- ・導入品(non-BV) : 創薬ベンチャー以外の企業(主として製薬企業)からの導入品目
- ・買収BV起源 : 当該企業が買収したBV起源の品目
- ・導入品(BV) : 独立のBV起源の品目(後に他の製薬企業あるいはBVに買収されたBVの品目も含む)

出所: 医薬産業政策研究所 リサーチペーパー・シリーズNo.48

「製薬企業とバイオベンチャーとのアライアンスー日米欧製薬企業の比較分析ー」(2009年)

## 6 医療用世界売上上位150品目の主要5か国における上市順位(2013年)



出所: ©2015 IMS Health. World Review, Life Cycle, Phmaprojectsより医薬産業政策研究所にて作成(転載・複写禁止)

注: 2015年2月時点調査

## (参考) 専門用語および略語解説

用 語	意 義
再生医療等製品 (P 1)	身体の機能の修復、疾病の治療・予防、あるいは遺伝子治療等のために、人や動物の細胞を加工して、人の細胞に導入して使用する製品のこと。
バイオ医薬品 (P 3)	タンパク質やウイルスなどの生物によって生産される物質などをもとに、遺伝子の組み換えや細胞の増殖などの技術を用いて製造される医薬品。多くの病気と幅広い患者の治療に有効とされる。
精密医療(プレジジョンメディシン) (P 3)	個人の遺伝子情報などの詳細な情報をもとに、より精密な対応を行う医療のこと。アメリカでは、オバマ大統領の2015年1月の一般教書演説の中で「プレジジョンメディシン・イニシアティブ」の開始が打ち出された。
臨床試験および治験 (P 5)	「臨床試験」とは、新しい医薬品等を患者に用いて治療などを行い、有効性・安全性等の評価をするもの。 「治験」とは、新しい医薬品等の承認を得るために行われる臨床試験のこと。
レギュラトリーサイエンス (P 11)	医薬品等の開発、評価等に関して規制のあり方等を考えること。第4期科学技術基本計画において「科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づき的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会とも調査の上で最も望ましい姿に調整するための科学」と定義されている。
抗体医薬品 (P 13)	抗体とは、免疫グロブリンというタンパク質で、身体に悪影響を及ぼす異物(抗原)に結合してその異物を除去するもの。抗体医薬品は、抗体を利用した医薬品で、がん細胞などをピンポイントでねらい撃ちするため、高い治療効果と副作用の軽減が期待できる。
PMDA (P 13)	独立行政法人医薬品医療機器総合機構(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency)。医薬品や医療機器等の承認審査、安全対策、健康被害救済などを実施している。

市販後調査（PMS） (P13)	ポスト・マーケティング・サーベイランス。医薬品等の承認に際しての臨床試験（治験）データは症例数が少ないなどの制約があるため、製造販売後も引き続き医薬品等の有効性、安全性について調査していく必要があり、製造販売業者は、その剤の状況に応じて、市販直後調査、使用成績調査などが義務づけられる。
クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN） (P13)	治験・臨床研究に対して、国立高度専門医療研究センターの疾患登録システムを最大限に活用していくため、関係機関のネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアムを形成するとともに、疾患登録情報を活用した臨床評価の手法に関するレギュラトリーサイエンス研究を行うもの。
POC (P16)	プルーフ・オブ・コンセプト。基礎研究段階にある新薬候補物質について、動物やヒトに投与する臨床試験の結果、有用性・効果が認められること。
薬事戦略相談 (P18)	PMDAでは、日本発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な試験・治験計画策定等に関する指導・助言を行っている。それらには、薬事戦略相談の手続や内容を説明する個別面談（無料）、対面助言に向け相談内容の整理のために実施する事前面談（無料）、科学的議論を実施する対面助言（有料）のプロセスがある。
AMED (P18)	国立研究開発法人日本医療研究開発機構（Japan Agency for Medical Research and Development）。医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進や成果の円滑な実用化等を総合的・効果的に行うため、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施や助成等を行う。
臨床研究中核病院 (P18)	日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究や治験を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的な役割を担う病院として、「臨床研究中核病院」が医療法上に位置づけられている。

\* 用語欄のかっこ内は、報告書中のページ数を示す