

大学発バイオベンチャー協会
ジャパン・オリジナル・ドラッグ創出への要望書

2010年7月

大学発バイオベンチャー協会
会長代行 森下竜一

はじめに

昨今、わが国では 2007 年ごろよりバイオベンチャーへの投資が厳しくなり、バイオベンチャーによる先端医薬品開発が滞っていたが、金融危機発生以降新規株式上場（IPO）による調達額の激減、ベンチャーキャピタル（VC）によるバイオベンチャーへの投資の急減などにより、より危機的な状況に陥っている。それにより、これまでの事業モデルでは事業および研究開発の持続は困難になり、臨床試験を行っているようなミドルステージのバイオベンチャーも淘汰される状況にある。

一方、欧米においてはバイオ投資は、回復してきており、細胞免疫によるがん治療薬の上市など従来以上にバイオ産業が活性化し始めている。また、アジアにおいても、中国・韓国では国策としてのバイオ産業の育成が図られており、世界初の遺伝子治療薬が中国で上市され、次世代バイオ医薬品育成が成長戦略として組み入れられている。また、世界共同治験においても、中国・韓国が組み入れられる一方、日本では治験が行われないうなど、医薬品・バイオ産業において相対的な地位の低下が目立ってきている。

このような中で、わが国は長期的に今後益々、国民の健康長寿を維持する為にも、バイオ産業においてアドバンテージを取れるような政策をいまこそ打ち出すべきである。特に、日本発の画期的な医薬品・医療機器を創出することが、日本の成長のために必須であり、バイオ産業のイノベーションの成功に欠かせない必要な施策として、以下の 2 つを要望する。

【提言 1】 ジャパン・オリジナル・ドラッグの創出促進

先端医薬品の開発は、主にベンチャー企業によって行われており、医薬品産業を振興するためにも、ベンチャー企業の育成は必須である。PMDA ではベンチャー振興業務が行われていたが、いわゆる仕分けの対象とされ、成長戦略の中で国内バイオ産業育成の視点が揺らいでおり、早急な対策と実行が求められる。特に、下記の点を要望したい。

1) オーフアン・ドラッグ

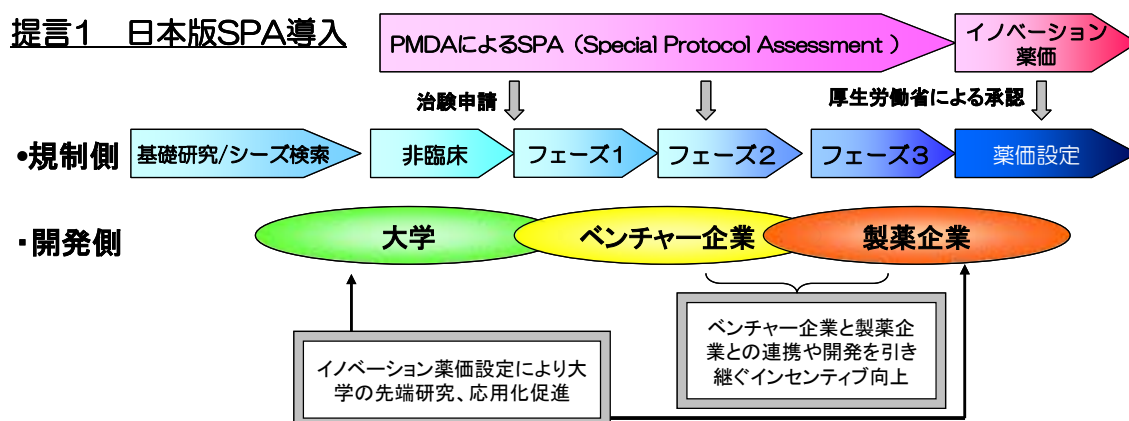
日本では、オーファンの定義が曖昧（裁量行政）で、米国に比べ狭い。例えば、既存の治療が無効な患者集団があっても同じ病名だとオーファンの対象とならないなど、医療の現状に即していない。また、どの様な臨床試験を実施すれば承認されるのかの審査基準となる指針も、明らかでない。オーファンドラッグの定義（小規模疾患への効能追加等を含む）と審査基準を明記し、必要な治験症例数等の審査基準を緩和して早期上市を実現する一方、市販後調査を充実させて安全性の確保を図ることを要望する。特に、国内やアジア圏での患者

が中心である場合、国内製薬企業が開発に着手しない限り、解決すべき医薬品が創出されない可能性が高く、これらアジア人に多い疾患(たとえば、川崎病、潰瘍性大腸炎、ビュルガー病など)は特に注力をして、国内企業によるジャパン・オリジナル・ドラッグの開発を促進すべきである。

このような難病の治療薬として抗体医薬が開発されてきたように、iPS細胞などの再生医療、細胞治療、核酸医療、遺伝子治療等が、難病の次世代治療薬と期待されるので、抗ガン剤の審査を参考にし、審査基準を明確にし、市販後調査を充実させることにより、早期上市を可能にするバイオ特例法の制定を要望する。

2) 日本版 SPA 制度の導入

医薬品開発型バイオベンチャーにおいて、臨床開発における承認審査の確度の見通しが見つからないことは、会社の資金的な運営の難しさに繋がる。それは、バイオベンチャーにとって、医薬品の開発費用は、製薬企業との連携による資金提供や共同研究費、もしくは、ベンチャーキャピタル等からの投資により賄っている。これらの開発費用を受けるためには、開発品の承認の有無が判断基準である。現行では、その判断基準である承認審査の時期や、承認を得るためのガイドラインが不明確なため、開発費用を集めることは難しい。そこで、米国 FDA で実施している SPA (Special Protocol Assessment) 制度のような、規制当局からのコミットメントを得られるような制度の日本版 SPA を整備し対応することが必要である。米国 FDA での SPA は、フェーズ I I 終了時からの制度である。しかし、日本版 SPA では、医薬品開発型バイオベンチャーのイノベーション支援であることから、治験申請（確認申請）前の段階から制度の対象範囲とし、フェーズ I I 終了時に規制当局の独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) と、フェーズ III のエンドポイントを決定することとする。



さらに、日本版 SPA は、革新的医薬品に対する特許期間の薬価改定排除等の薬価制度の特別処置の設定として、「イノベーション薬価の設定」も含む制度とする。

また、バイオベンチャーと製薬企業との連携（アライアンス）を推進するためには、当事者間の取り組みに対して、大企業（製薬企業）を対象としたインセンティブ向上のための政策的な政策が必要である。そこで、日本版 SPA の制度には、日本版 SPA の承認を得た「バイオベンチャーと製薬企業との連携の推進政策」として、下記の事項を含む内容を提言する。

- ・ 事業連携によって実施する開発費用に対する補助金・助成金の制度
- ・ 製薬企業がバイオベンチャー企業の資産取得した際の減税処置
- ・ 製薬企業がバイオベンチャーとの共同開発、およびバイオベンチャーからの導入品の開発を実施した際の特別処置の設定
 - － 審査料金の減額
 - － 優先的審査

【提言 2】 医薬品・医療機器におけるわが国の規制緩和事項

わが国のバイオ産業の成長に苦しむ状況の理由となっている重要な課題として、医薬品や医療機器、生物製剤などの審査・承認体制の問題がある。このような現状を踏まえ、大学発バイオベンチャー協会では、具体的な医薬品や医療機器、生物製剤などの審査・承認体制を改革し、迅速化を図るために、平成 16 年 2 月には「大学発バイオベンチャー協会からの提言」を河村文部科学大臣および坂口厚生労働大臣などの各方面へ提出し、また「大学発バイオベンチャー支援のための特許制度について」を内閣官房知的財産戦略本部中小企業・ベンチャー支援のために特許制度を検討する委員会に提出するなどの活動を行ってきた。これらの動きに加え、医薬品に関しては、製薬協からも提言書がだされ、審査・承認のための法制度の改正・整備や審査・承認に関わる人材の強化など、制度の見直し・改革が行われた。

一方、医療機器の状況は、高齢社会であるわが国においては、病気の診断・治療・補助療法・予防に医療機器は不可欠であるにも関わらず、医療機器の臨床開発を迅速に行えるような制度が整っていない。その為に、医療機器は自国による開発品は非常に少なく、輸入に頼っているのが現状である。特に、からだへの危険が高い治療に用いる医療機器（国際分類クラス 3, 4）は、海外の輸入品が主流である。

この現状の背景には、医療機器を開発する企業は予想外の不慮の事故に対す

る危機回避の姿勢の問題もあるが、一方、医療機器を開発する際のわが国の薬事の問題が多い。

医療機器は、根本的に医薬品の開発とは異なり、臨床開発を行いながら改良を進め、患者さんへ最適な製品を作り出す。しかし、わが国は半導体、電子機器、材料、製造などは、世界に誇る優れた技術が多く存在する。

よって、医療機器の臨床開発を、迅速に行える新医療機器申請制度（日本版IDE）の創設が必要である。

また、薬剤がコーティングされた新しいタイプの医療機器が急速に開発されてきている。事実、薬剤流出ステント（Drug Eluting Stent;DES）は、冠動脈におけるステント市場の80%に近いシェアを占めるにいたっている。現行の審査制度は、このような新規高機能付加型医療機器に対応しておらず、早期にガイドラインの制定により海外への展開も可能になるように思い切った規制緩和と早期承認を可能にするような制度設定を行うことを要望する。

一方、簡易な医療機器や医療用具は、現在では規制緩和により都道府県の認可に変更されているが、高機能付加したような医療機器や医療用具の扱いは、国の認可か都道府県の認可が明確でなく、イノベーションの発達を阻害している。そのような医療機器・用具の例として、感染を防ぐ絆創膏やインフルエンザを防ぐマスクなど多岐にわたる。このような高機能付加型で簡易な医療機器・用具のために、医薬品分野における「特定保健用食品」のような特定機能性医療機器制度の創設を希望する。