

科学研究費助成事業 研究成果報告書

平成 27 年 5 月 20 日現在

機関番号：14101

研究種目：挑戦的萌芽研究

研究期間：2013～2014

課題番号：25590073

研究課題名(和文)個別化医療の時代に出現した新たな創薬ベンチャー・モデルに関する研究

研究課題名(英文) Study of new innovative drug development venture business model which appeared in the times of the personalized medicine

研究代表者

西村 訓弘 (Nishimura, Norihiro)

三重大学・医学(系)研究科(研究院)・教授

研究者番号：30402689

交付決定額(研究期間全体)：(直接経費) 2,500,000円

研究成果の概要(和文)：英国の非営利団体であるCancer Research UK (CRUK) は、数百億円の寄付金で開発を実施し、本格的な新薬候補を製薬企業に提供していた。CRUKの事例はNPO創薬の成功モデルである。台湾では慈済基金会が寄付を基に台湾第2位の医療組織を形成し、患者に最適な医療を実現していた。慈済基金会の取組は、病院経営に「非営利(=寄付収入)」と「営利(=医療収入)」の異なる手法を融合することが、「医療の質向上」につながることを示唆した。

研究成果の概要(英文)：The Cancer Research UK (CRUK) which is a British non-profit organization carried out development by donation of tens of billion yen and provides a new drug candidate to the drug industry. An example of CRUK is a success model of the NPO innovative drug development. In Taiwan, Buddhist Compassion Relief Tzu Chi Foundation forms the Taiwanese second largest medical organization based on donation and realizes the medical care that is most suitable for a patient. The action of Tzu Chi Foundation suggested that the introduction of a fusion of "nonprofit way (donation income) and the profit way (medical care income)" to the hospital management could realize the medical quality improvement.

研究分野：トランスレーショナル医科学

キーワード：創薬 ビジネスモデル 台湾 英国 個別化医療 非営利団体 技術移転 ベンチャー

1. 研究開始当初の背景

研究開始当初は、患者の疾患背景を把握し、各患者に最適な医療を施す「個別化医療」が進展し、個別化医療を前提とした新薬開発が主流となりつつあった。個別化医療では、分子標的薬型新薬の開発に並行して新薬の有効性や副作用発現の個人差を把握し、医師による投薬妥当性や投薬量決定を補助する「コンパニオン・バイオマーカー (Companion Biomarkers : CB)」の存在が必須であるが、当時は、CB 開発費を上市後に回収することが期待できないことや、適用患者が限定されるため治療薬開発コストを減額せざるを得ない状況にあるなどが原因で、大手製薬企業においても CB 開発を躊躇することが認められていた。

このために米国では、FDA と製薬業界が協力して新薬開発の新しい仕組み創りが行われており、2005 年に設立された非営利団体の Critical Path Institute (C-Path) の Coalition Against Major Diseases (CAMD) プロジェクトがその典型的なものとして開始され、神経変性疾患であるアルツハイマー病とパーキンソン病を対象とした CB の共同開発に取り組んでいた。CAMD では、研究成果の共有についてプロジェクト参加者間で合意しており、臨床応用が可能なバイオマーカーに関するバリデーション結果を新薬承認機関である FDA、EMA、PMDA に提出することで神経変性疾患の薬剤開発プロセスを加速することを目指していた。

このように「競合関係にある複数の当事者が医薬品開発推進のためにコンソーシアムを組み上げ、共同開発で得た成果 (知財) を共同利用する環境を提供する」ことで新薬開発に貢献する非営利の事業体 (NPO 創薬ベンチャーと定義) が、個別化医療の普及に伴い欧米では徐々に開始されていたのが本研究を開始した当初の当該分野における背景である。

2. 研究の目的

本研究は、「個別化医療の時代」に伴って出現した NPO 創薬について先行事例を詳細分析し、バイオ産業の将来予測とも照らし合わせながら考察することで、個別化医療の時代に適応する新たな創薬ベンチャーのビジネス・モデルについて体系化することを目的とした。

以上の目的を果たすために、本研究を行うに当たっては、

1) 個別化医療に伴って生じている新薬開発上の問題点とそれを克服するための仕組み (非営利創薬コンソーシアム形成など) の先行事例について調査・分析を行うことで個別化医療に適したベンチャー・ビジネスの在り方を明確化し、

2) 個別化医療の普及に適応して出現している NPO 創薬ベンチャー型ビジネス・モデルなどの社会的意義を考察し、個別化医療が

中心となる医療ビジネス・モデルの理想像を提唱することを具体的な目標とした。

3. 研究の方法

個別化医療の時代に適応する有望な創薬ベンチャーとして想定された NPO 創薬ベンチャーが果たすべき役割とその理想的なビジネス・モデル (収益構造、組織、運営の在り方など) について、文献調査を行うことで、大局的な方向性を整理した。その上で、その分析結果を基に、具体的な事例を抽出し、さらに詳細な検討を行う調査対象機関として選定した。

調査対象機関に対して訪問調査を実施し、ヒアリング調査結果を整理することで、個別化医療の時代を迎えて新たな成長段階に入ったバイオ産業において、その原動力となりうる「NPO 創薬ベンチャー」の役割と急激に変化する創薬ビジネスに適応するために試行されている新たな取り組みの戦略と効果について考察した。訪問調査対象とした機関は以下の通り。

(1) Cancer Research UK (英国)

がん治療医薬品の開発を行っている NPO 創薬機関である。企業からの寄付により莫大な資金を調達し、大学等の研究機関への委託研究と自社での臨床研究を基に開発した新薬候補を大手製薬企業に利潤を求めずに提供するビジネス・モデルで運営されている。NPO 創薬の典型的な事例として、訪問調査を行った。

(2) 慈濟仏教基金会 (台湾)

台湾の仏教団体が貧しい人々への治療機会を与えることを端緒として行われてきた事前での医療活動が寄付金の増加に合わせて拡張し、台湾第 2 位の医療組織を確立するまでになっている。「非営利 (= 寄付収入)」と「営利 (= 医療収入)」のベスト・ミックスによって個別化医療の普及による高度医療化と利潤の離反を克服し、理想的な医療提供を実現する典型的なモデルとなることが文献調査から明確となった。このため個別化医療の普及を医療機関として実現する典型的な事例として、訪問調査を行った。

上記の機関に対して行った調査結果を分析、考察することで、近未来に訪れる個別化医療の時代に適したビジネス・モデルについて理論構築を行った。さらに、研究成果を基に日本などの先進国において活用が可能な具体策についても考察を行った。

4. 研究成果

(1) NPO 創薬の実態とその可能性

本研究では、創薬分野に台頭しつつある非営利の新薬開発の現況について、文献等を題材とした調査、分析を行い、モデル事案の抽出を行った。この結果、英国で実施されてい

る非営利団体による新薬開発（NPO 創薬）の事例が典型的なモデルとして浮かび上がり、その中でも中核的な組織であった Cancer Research UK（CRUK）を選定し、詳細な内容を把握するために調査研究を行った。

CRUK は、寄付による税控除対象団体として認定されており、数百億円規模の寄付金を集め本格的な新薬開発を実施している。開発費用の大半が寄付金であり、これに公的資金と企業等からの資金を新薬開発に導入していた。創出された新薬候補は、利潤を含まない開発実費を基にした算出方法でライセンス価格が決定されているため、従来の創薬ベンチャーに比較して大幅に低い額で製薬企業に提供されていた。このため、個別化医療の普及に伴って収益力が低下することが予想されている大手製薬企業にとっては、CRUK が新薬候補を入手するための有力な開発者（提供者）として認識されるようになっていた。

また、CRUK では、第三者機関によって社会的要求度を優先した判断に基づいて公平に開発医薬品の選択が行われており、その結果として、英国民にとって理想的な新薬開発が行われていることも判明した。

個別化医療の新薬開発では、バイオマーカー評価に新たな費用がかかること、また、バイオマーカー判定によって投薬対象の患者が限定されることが販売量の減少を生じさせ、製薬企業の収益性を著しく低下させることが予想されている。このため、個別化医療の進展に伴って、患者には治療効果が高い医療を受けることができるようになるという利点があるが、製薬企業には開発コスト増と収益減によって経営が悪化するという欠点もあり、その波及を困難にする矛盾した状況が生み出されている。

以上のような状況は、英国で行った関係者へのヒアリング、文献調査からも確認することができた。また、文献調査とヒアリング調査からは、既存の医薬品に対しても個別化医療の考え方が浸透しつつあり、個々の患者に対する適用効果に関する情報も膨大に蓄積してきており、最近の医療現場では、医薬品を投与する前に、患者に適した医薬品であるか否かを個別に診断し、個々の患者に対して最適な治療を実行しないことが、医者に対する訴訟対象となり得る事態も生じてきていることも判明した。

以上のことから、個別化医療を本格的に社会定着させるためには、上記の矛盾を解決することが必須であり、それも相当早い速度で実現することが肝要であることが医療現場の実態調査から明確となった。このため、CRUK の存在は、非営利的手法と営利的手法を組み合わせた創薬が、個別化医療に伴って生じる医療現場での矛盾の解消に進展を与えることを強く示唆しており、経済的に成り立つ状況を形成しながら、患者に恩恵のある個別化医療を実現する有望な手段として「NPO

創薬」を普及させることの重要性を指示していた。

(2) 非営利と営利の融合の可能性

台湾の慈濟仏教基金会は、1966 年 4 月 14 日に釈証嚴法人が始めた取り組みで、貧困の人々に医療を提供するために寄付を募り病院施設を建設、運営し、その仕組みを拡大している。現在、7 か所に大規模な病院を持ち、総数 7,200 床の台湾第 2 位の規模の医療組織となっている。この規模になっても患者本位の医療を行っており、対象を台湾内外にも広げながら、貧困の患者が平等に医療を受ける機会と場を提供している。

台湾では、先進医療の普及による治療単価の高騰と高齢化に伴う医療費の全体の増加に加え、経済成長の低迷による国家財政の悪化から、医療費削減への圧力が高まり、医療現場に歪が生じていた。このような状況下で、慈濟仏教基金会は、病院施設の建設費に寄付で集めた資金を活用すること、また、ボランティアによる病院運営への支援を受けることで病院経営の財政的な健全化を図っている。具体的には、病院収入については、患者治療に対して政府から支給される医療保険に定められた診療費が中心であり、従来の他の病院の仕組みと同じであるが、運営コストから病院建設のための費用が削除されるため、減価償却費等の固定費負担を著しく軽くすることができ、結果として「儲かる経営」が実現されている。

その一方で、慈濟病院では、「得られた利潤」の患者への還元が徹底されており、「患者に対して医者が最適と判断した医療を提供すること」、「最先端医療機器をいち早く導入することで最も効果のある医療を提供すること」、及び、「先端医療の研究を積極的に行いその成果を遅滞なく患者に還元すること」に利潤を惜しみなく投下していた。このような環境を創り上げることで、給与は他の病院並みであるが、新卒医師が最も就職したい病院として慈濟病院が台湾では認識されており、医師をはじめとする医療従事者にとって理想的な病院となっていた。

以上のように、台湾における慈濟仏教基金会の取組は、病院経営に「非営利（＝寄付収入による病院施設の建設と最先端医療器・設備の導入）」と「営利（＝医療保険で定められた医療収入）」の異なる手法を融合させることが、「医療の質向上」につながることを明確に示唆していた。

高度医療の進展で治療効果が高まる一方で、先進医療に必要な医療コストが増大し、財政上の理由から最適な医療よりも採算が取れる医療を選択せざるを得ない矛盾が医療現場では生じている。日本でも、患者への治療法を選択する過程で、最適な治療より、病院経営への貢献を理由とした（儲かる）治療法を選択せざるを得ない状況に医療従事者が陥る機会が増えており、このような状況

は、患者の不利益を生むだけではなく、より深刻な問題として医療従事者の正義感を削ぐことによる医療全体の沈下に繋がる可能性が危惧される。

高度医療の進展に伴う「経済的背景による医療の質の低下」は深刻な問題であり、医療・福祉関連の質を高め維持し続けるためには、この解決を取ることが必須である。

慈済仏教基金が実現している「非営利（＝寄付収入）」と「営利（＝医療収入）」を有効に調和させた病院経営は、経済的な理由が原因で生じている医療現場の歪を解消する重要な解決法の事例となる可能性が高い。さらに、病院経営において「非営利（＝寄付収入）」と「営利（＝医療収入）」の異なる手法を融合させることが、「医療の質向上」につながる可能性を示唆していることは、日本だけではなく先進国に対して、個別化医療の普及に伴ってパラダイムシフトが急速に起こっている医療・福祉分野において、新たな事業運営モデルを提示する重要な先事例となる。

(3) 個別化医療への経営的適応

台湾の慈済仏教基金が設置している慈済大学の王本榮学長への聞き取り調査を行った際に、王学長から、「20世紀の発展を牽引したケインズ経済は現代の医療を破壊しようとしている。このためケインズ経済ではなく『善の経済』が21世紀には必要である。」との指摘を受けた。

この指摘は、個別化医療の進展で急速に変化する医療の世界において、医療従事者など医療現場で働く人々に限らず、組織として医療に関与している病院、製薬企業、創薬ベンチャーが新たな環境に適応するためには、従来の経済原理の視点に基づく手法にこだわるのではなく、「社会正義の視点で新たな概念を構築して解決する」ことが重要であることを強く示唆している。また、個別化医療が中心となる医療環境への適応には、その実現に「非営利」に基づく社会正義を実現する行為と経済原理に基づく「営利」事業を最適融合させることが必須であるだけでなく、人類が積み上げてきた医療・福祉の成果を永続的に社会に還元し続けさせるためにも必ず成し遂げなければならない行為としての側面もある。

個別化医療の普及は間違いなく人類に対して恩恵を与える歴史的な科学の進歩である。しかしながら、個別化医療の普及に伴って生じる急激な環境変化は、既存の医療ビジネスの当事者に戸惑いを与えるとともに、従来のビジネス・モデルが機能しなくなる事態も招いている。このような医療におけるパラダイムシフトを乗り越える有効な方策を指し示すのが、本研究で取り上げた CRUK と慈済仏教基金の事案であり、その分析から浮き上がった重要なキーワードが「非営利」と「営利」の有機的で最適な融合である。

21世紀に入り急速に進展する科学とその波及が及ぼす、急激な社会変化は、今回、提示した医療の現場以外でも、数多く散見される。いずれの場合にも、20世紀の高度な経済成長を牽引してきた手法（資本主義的手法）が、ことごとく機能しなくなっていることが原因となっているようである。このような変革が起こっている社会では、従来の営利事業という狭い範囲の行為に加えて、社会正義の実現をモチベーションとする「非営利」の行為を有効に活用することが肝要であり、「営利」と「非営利」の最適な融合によって生み出される新たな経営手法が、21世紀の社会に適応するための重要な基礎概念になる。

5. 主な発表論文等

〔雑誌論文〕（計1件）

①西村訓弘 巻頭語、地域イノベーション学会誌、査読無、3巻、2014、1-2

〔学会発表〕（計3件）

①西村訓弘、ニュービジネス創出の支援体制について、第2回ニュービジネスネットワーク連絡会議（招待講演）、2014年2月14日、ホテルグリーンパーク津（三重県・津市）

②西村訓弘、「みえライフイノベーション総合特区」における MielIP の整備と三重大学が果たす役割について、SUZUKA 産学官交流会第35回産学官交流フォーラム（招待講演）、2013年9月27日、鈴鹿医療科学大学（三重県・鈴鹿市）

〔図書〕（計0件）

〔産業財産権〕

○出願状況（計0件）

〔その他〕

なし

6. 研究組織

(1) 研究代表者

西村 訓弘 (NISHIMURA, Norihiro)
三重大学・大学院医学系研究科・教授
研究者番号：30402689