

平成 21 年 6 月 4 日現在

研究種目：若手研究（B）
 研究期間：2006～2008
 課題番号：18730241
 研究課題名（和文） 大学発ベンチャー企業によるオーファンドラッグ市場の創出可能性に関する研究
 研究課題名（英文） Study for the possible creation of new orphan drug market based on the start-ups from the universities in Japan
 研究代表者
 西村 由希子（Yukiko Nishimura）
 東京大学 先端科学技術研究センター 助教
 研究者番号： 00361676

研究成果の概要：

本研究により、世界市場を対象とした製薬企業と、国内市場を対象とした製薬企業との二極化はますます加速し、その結果、数十億規模の医薬品市場が新たに創出されることを明らかにした。さらに、大学発知的成果を活かすことができ、かつ、大学発ベンチャー企業と製薬企業（特に世界市場型）との共存可能性も予想される新規市場として、当該分野の存在を明らかにした上で、市場発展に対する課題についても考察した。さらに、「国内外に対する日本発オーファン・ドラッグ情報ポータル構築」および「オーファン・ドラッグ分野に興味を持つ研究者ネットワークの構築」「海外機関との積極的な研究連携および情報共有」についてもそれぞれ実施し、オーファン・ドラッグ治療研究の効果的な推進のための今までにない国内外を巻き込んだネットワークを構築した。

交付額

（金額単位：円）

	直接経費	間接経費	合計
2006 年度	1,200,000	0	1,200,000
2007 年度	1,100,000	0	1,100,000
2008 年度	1,000,000	300,000	1,300,000
年度			
年度			
総計	3,300,000	300,000	3,600,000

研究分野：技術移転・社会技術・知財マネジメント

科研費の分科・細目：経営学（経営学）

キーワード：オーファン・ドラッグ、知的財産、ベンチャー起業、技術移転

1. 研究開始当初の背景

近年、国策として大学発ベンチャー起業促進が行われており、一定の成果を挙げている。しかし、大学発ベンチャー企業が参入することにより活性化する市場の模索に関しては、必ずしも政策主導で行うことが妥当とは言えず、検討が続いている状態である。一方、医薬品業界は近年まれに見る劇的な変化を遂げている。平成 17 年度に施行された改正薬事法を受けて、医薬品承認制度が欧米と

同様に「製造販売承認制度」へと変化した。この制度改正により、従来製薬企業が有する必要があった工場部門のアウトソーシングが可能となった。また、法改正による影響だけでなく、企業合併や連携といった業界再編が活発に行われており、世界市場を対象とした製薬企業と、国内市場を対象とした製薬企業との二極化はますます加速すると予想される。その結果、数十億規模の医薬品市場が新たに創出されると考察する。

大学等公的機関における医薬系研究に目を転じると、新規医薬品開発や、それらの基となるシーズ研究といった知的成果の創出はますます活発に行われている。しかしながら、基礎研究から発展して創出（開発）される成果は、必ずしも全てについて、将来大規模な市場性を有するとは限らないことも自明であろう。

希少疾病用医薬品（オーファン・ドラッグ）は、国内における新しい市場候補の一つである。オーファン・ドラッグとは、（１）我が国において患者数 5 万人未満の重篤な疾病が対象であり、（２）医療上、特にその必要性が高く（代替する適切な医薬品等または治療方法がない、もしくは既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待される）（３）開発の可能性が高い（その医薬品を使用する理論的根拠があり開発計画が妥当であると認められること）医薬品と定義されている。オーファン・ドラッグの概念が生まれた 1970 年代には、経済的動機付けがない、と企業から敬遠されてきたが、その後米国をはじめとした各国の優遇政策により、諸外国では経済的にも成功している例が数多く生まれ、企業が相次いで参入する市場となりつつある。

日本でも、さまざまな法改正・施策制定。基盤整備対策により、2008 年度末にはオーファン・ドラッグ指定品目数は 217 品目に達し、また 140 を超える新薬がオーファン・ドラッグとして承認販売されている。

申請者は、こういった大学発知的成果を活かすことができ、かつ、大学発ベンチャー企業と製薬企業（特に世界市場型）との共存可能性も予想される新規市場として、希少性疾患医薬品（オーファン・ドラッグ）市場に着目した。

2. 研究の目的

本研究の目的は、大学発ベンチャー企業による希少疾病用医薬品（オーファン・ドラッグ）の新規市場創出可能性について、薬事法制度改正及び医薬品業界再編の視点を踏まえて検証し、大学発ベンチャー企業の更なる活性化に関する政策提言を担当府省に対し行うことである。

3. 研究の方法

本研究は、研究開始とともに実施する予備調査（国内外学術文献調査・識者に対する予備ヒアリング・国内外薬事法及び関連法及び省令の施行状況調査等）を経て、「1. 薬事法改正及び医薬品市場再編による市場変化」「2. 大学発ベンチャー企業の希少疾病用医薬品の市場参入」「3. 希少疾患関連研究助成制度の諸問題解決」を主な検討課題とした。また、当該課題の社会実装に関する諸問題に

についても検討した。

4. 研究成果

4-1 薬事法改正及び医薬品市場再編による市場変化

本研究では、欧米諸国におけるオーファン・ドラッグ法の制度比較をもとに、日本のオーファン・ドラッグ法（薬事法）による国内市場への影響を考察した。その結果、世界市場を対象とした製薬企業と、国内市場を対象とした製薬企業との二極化はますます加速し、数十億規模の医薬品市場が新たに創出されることを明らかにした。

医薬品の研究開発には、研究開始から承認取得まで約 10~20 年の年月を要するが、研究開発の成功率は、候補化合物を母数とするとわずか 15,622 分の 1 である [DATA BOOK2007 (2007) Japan Pharmaceutical Manufacturers Association]。また、当然開発費用も極めて高額であり、創薬環境の高コスト化は全世界で進行している。従って、各企業は、収益力の高い医薬品事業部門に経営資源を重点化し、新薬開発競争による研究費の高騰に対応する必要に迫られている。

日本では、2000 年代以降、国内製薬業界における大幅な業界再編が行われている。2005 年以降、国内大手製薬企業による合併が相次いでおり、それにともない 1 社当たりの研究開発費も増加している。また、2005 年の薬事法改正により、医薬品承認制度が製造承認から欧米と同様の販売承認へ変更された。この結果、製造部門の切り離し（外部企業へのアウトソーシングもしくは子会社化）が可能となり、研究開発費をさらに増額することが可能となった。

このように、国内の大手製薬企業は、世界市場でのさらなる飛躍に向け戦略を構築している。これは、近い将来には、国内製薬企業規模が二極化し、その結果世界市場ではなく国内市場といった小さなマーケットをターゲットとする企業群が台頭してくると予想できる。これら企業群のうちの多くは、ベンチャー企業と呼ばれる新興企業が担うと推察した。

この Domestic market として有用な市場は何だろうか。本研究では、生活習慣病と希少疾患との大企業がターゲットとしている生活習慣病医薬品の主な特徴を分析した。その結果、生活習慣病の主薬効は非常に複雑な場合がほとんどであるが、オーファン・ドラッグのそれはシンプルなものが多い。また、副作用に関しても、オーファン・ドラッグの場合は、重篤な疾患に効果が期待されるのであれば、少々の副作用は考慮の対象にならないことがわかった。また、開発コストや競争についても、政府の補助制度も存在するため、生活習慣病医薬品と比較するとはるかに小

規模治験ですみ、また独占市場をとれる可能性が高いことも明らかとなった。

従って、オープン・ドラッグ市場は、大企業が狙うようないわゆるハイリスク・ハイリターンビジネススタイルではなく、人材・金銭面で体力がないベンチャー企業向けの市場であるといえる。また、言い換えれば、大企業が狙うには十分な市場規模をもたないマーケットとは必ずしもいえないことから、大企業とすみわけが可能であるともいえる。

現在、世界のバイオベンチャー企業は、1) 機器や試薬といった研究支援系、2) 創薬基盤技術系、3) 創薬系、の3つにわけられる。日本には、14社の上場バイオベンチャー企業があるが、その多くが研究支援系である。これは、日本のバイオベンチャー企業設立の歴史がまだ浅く、時間がかかる創薬系ベンチャー企業がまだ育ってはいないためだと推察する。一方、日本のバイオベンチャー企業全体を時価総額でランキングしてみると、上位は創薬系が並ぶ。また、新規上場についても、2003年以降は創薬系が増加している。

国内バイオベンチャー企業の資金調達は、決して容易ではない。しかし、当該分野における起業が今後活発化してきた場合には、その多くが創薬系ベンチャーを目指し、同時にオープン・ドラッグ市場に目をつける可能性は非常に高いと推察した。

4-2 大学発ベンチャー企業の希少疾病用医薬品の市場参入

本研究では、近年特に活性化している大学発知的成果の産学連携施策について、特にライフサイエンス分野について分析した。また、上述した新規市場として、大学発ベンチャー企業と製薬企業(特に世界市場型)との共存可能性も予想される希少性疾患医薬品(オープン・ドラッグ)市場の創出可能性があることも明らかにした。さらに、(大学発)ベンチャー企業、及びオープン・ドラッグ研究開発の役割について述べ、日本におけるオープン・ドラッグ研究開発促進策のための提言を行った。

1990年代以上の活発な産学連携・技術移転政策の導入により、大学発知的成果の市場活用も増加している。大学発ベンチャーは、2008年末までに1,809社が誕生しており、その中でバイオ分野の起業は約35%を占めている[経済産業省(2009)平成20年度大学発ベンチャーに関する基礎調査]。2007年には、産業技術力強化法の改正が実施され、イノベーションを支える産業技術力を強化するため、大学等の研究開発の成果の産業への移転を促進するため、大学等に対する特許料の軽減措置(アカデミック・ディスカウント制度)の対象を拡大するとともに、国の委託研究

の成果に係る知的財産を事業者等に帰属させる日本版バイ・ドール制度を恒久措置とすることが内容に含まれた[http://www.meti.go.jp/policy/innovation_policy/sangihoh.htm (in Japanese)]。このように、産学連携の機運が高まる中、オープン・ドラッグのような小さな市場を狙う企業群が大学からも生まれてくると考察した。

本研究期間にて、大学発ベンチャー企業の位置づけを再確認するため、大学発知的成果を用いた社会貢献のあり方について検討した。その結果、日本の大学発知的成果は、1) 市場経済型、2) 地域振興型、3) 公共財型、の3つにわけられることが明らかとなった。大学発ベンチャー企業は、1)を主目的として設立されているが、研究分野によっては、他の項目においても存在価値があると判断した。

オープン・ドラッグに関する研究開発は、戦略次第でこれらの活用形のどれに当てはまると考察する。つまり、うまく知的成果がいきるマーケットをとらえる(もしくは開拓する)ことができれば、1という形でビジネスとして活かすことが可能である。ベンチャー起業の意義のひとつに、一種の社会問題を解決することも考慮すると、なおのことオープン・ドラッグ分野は適切だといえよう。また、地域に特有の疾患をターゲットとした場合には、地域特化型モデルとして地域に貢献することができるであろう。さらに、「自分は特に儲ける気はなく、ただ人の役に立ちたい」と考えている研究者は少なくない。このような研究者にとって大切なことは、事業を興して成功させることではなく、自身の研究成果が世の中に活かされることをこの目で確かめたい(知りたい)という、研究者ならではの欲求であろう。それら研究者にとって、オープン・ドラッグ分野は、まさに「自身でつくりあげた成果が、患者さんのために役立つ」ことを実感することが可能な分野だといえる。

従って、オープン・ドラッグの研究開発分野は、まさに大学発知的成果を用いた社会貢献が可能である分野であり、さらに研究者もしくは社会のニーズに応じて、上述したどの類型に沿った戦略立案も可能である。

新規市場は、確かに未知市場であるためリスクは少なくない。しかし、一方で当該市場ならではのルールを自由につくっていくことが可能である。オープン・ドラッグ分野は、上述したように、大学発知的成果が生きる可能性が非常に高い。また、そのマーケットの小ささゆえに、ベンチャー企業やNPOといったハブの存在は必須である。このような、大企業と大学を結ぶハブの存在が当初から求められるマーケットであれば、Open Innovation という新しい概念が当該分野で

も定着していく可能性は高いと推察する。

また、Open Innovation は、技術を公共財ととらえ、どのようにして相互利用を可能にするか、という思考から端を発している。その考え方は、大学発知的成果の社会貢献のあり方と非常に合致していると考えられる。

4 - 3 希少疾患関連研究助成制度の諸問題解決（希少性疾患分野研究に関する支援状況の国際比較）

オーファン・ドラッグ関連研究についての研究支援、現在世界各国で積極的になされている。特に、アメリカ並びに欧州では、助成金支給にとどまらない支援や連携がおこなわれており、今後ますますオープン・イノベーションが進むことが予想される。

本研究では、オーファン・ドラッグ関連研究の支援状況について、アメリカならびに欧州における研究助成施策の特色について報告すると同時に、日本におけるオーファン・ドラッグ助成状況との比較を行った。

アメリカ・欧州と比べると、日本では金銭的助成事業は積極的に実施されているといえる。一方で、アメリカ（NIH Office of Rare Diseases）で実施されているような「アカデミア研究に対する人的支援事業」や、欧州（Orphanet, E-Rare）で実施されている「国際的共同研究事業」といった、基礎研究枠を超えたスタイルの事業はほとんど実施されていないといえる。イノベーションは、起こすべくして起こせるものではないが、起こしやすい環境、及び優れた成果が創出した際のサポート環境の構築は、今後大いに議論し、実装していくべきである。そのため、既存の枠にとらわれない助成事業の在り方を検討する必要がある。

特に、市場側での研究開発が、一般薬と比較して活発ではないオーファン・ドラッグ分野では、アカデミア研究を中心としたオーファン・ドラッグ創薬につながる研究成果の創出こそが、患者を助ける一筋の道である。また、患者は必ずしも日本国内だけでなく、世界中に広がっており、日本の研究成果が海外の特定地域の患者を救う可能性も少なくはない。今回報告した海外の助成事業との協調・連携は、研究者の成果を存分に発揮し、オーファン・ドラッグ創出確率の母数を上げ、それらを支える基礎研究の活性化には必須であろう。また、オーファン・ドラッグ事業は、また、日本の例として 2) に記載したオーファン・ドラッグ承認前後の助成については、臨床段階における人的サポート事業や、一律支給となっている金銭的支援に関しても、オーファン・ドラッグ審査制度・優先制度とともに、今後さらに検討する。

4 - 4 当該分野に関する社会実装への取

り組み

本研究では、「オーファン・ドラッグ分野に関する人財・情報ネットワークの構築」を目的として、様々な形でのネットワーク発信・共有を実施した。具体的には、「国内外に対する日本発オーファン・ドラッグ情報ポータル構築」および「オーファン・ドラッグ分野に興味を持つ研究者ネットワークの構築」、ならびに「海外機関との積極的な研究連携および情報共有」を実施した。

人財・情報ネットワーク構築の一環として、NPO 法人知的財産研究推進機構（PRIP Tokyo）と連携し、同分野に関心を持つ、大学院博士課程学生、企業実験系研究者、企業バイオインフォマティクス関係者、ポスドク研究者らを中心とした研究者ネットワークを構築し、月に一度の研究会を継続して実施した。この研究会実施により、今までのような研究分野ごとの議論ではなく、オーファン・ドラッグというキーワードに関連するすべてのプロセスに関わる者の参加が可能となり、幅広い議論が可能となった。また、研究会から多くの研究連携が誕生し、研究者間の幅広い知見の共有にも貢献した。今後は、臨床系研究者らにも参画を促し、それぞれの強みを活かした連携（共同研究等）を開始する。また、本研究会にて創出された研究ツールおよび成果は、積極的に公開していく予定である。

また、2008 年 12 月に開催したワークショップ（Open Discussion for Orphan Drug Discovery 2008（ODOD2008））では、創薬プロセスの入口に位置する大学・企業等の基礎研究者と、出口に位置する患者を対象として、「患者と創薬上流研究者の出会いの場」をテーマにした、患者側・研究者側各サイドからの発表提言を実施した。また、オーファン・ドラッグ関連分野における世界の現状および課題についても知識提供を行った。本ワークショップを通じて、オーファン・ドラッグ分野に対する検討ならびに知見共有が、研究者サイド、新薬承認サイド・患者サイド・臨床サイドといった単一の立場による切り口でなく、複合的な立場から見て実効性を持ち、その結果オーファン・ドラッグ治療研究の効果的な推進力となることを理解することができた。このワークショップ及び研究会は、研究期間終了後も引き続き実施していく。

さらに、国際連携として、本研究期間中に、当該分野における世界レベルのネットワークを構築し、NIH、Orphanet（フランス）、NORD をはじめとした、世界有数の識者らと、連携に関する様々な対話を開始することができた。また、海外からも、本活動の重要性を認められることができた。

5. 主な発表論文等

(研究代表者、研究分担者及び連携研究者には下線)

[雑誌論文](計 6 件)

1. Yukiko Nishimura, Study for the possible creation of new orphan drug market based on the start-ups from the universities in Japan, *The International Society for Professional Innovation Management*, Proceedings Paper, 2008
2. 西村由希子、希少性疾病分野研究に関する支援状況の国際比較、研究技術計画学会要旨集、2008.
3. 村松浩幸、丸幸宏、西村由希子、小学校における知財絵本読み聞かせの教育効果、日本知財学会要旨集、2008
4. 西山哲史、丸幸弘、高橋修一郎、西村由希子、科学実験と合わせた新しい知財教育、日本知財学会要旨集、2007
5. 隅蔵康一、西村由希子、知的財産マネジメント人材の育成手法、日本機械学会要旨集、2006.
6. 西村由希子、大学を核とした地域振興策における科学技術分野ごとの比較検討及び今後の展望、日本知財学会要旨集、2006

[学会発表](計 15 件)

1. Yukiko Nishimura, Review of Orphan Drug Designations and Approvals, International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs, 2009.
2. Yukiko Nishimura, The National Program on Rare and Intractable Diseases, International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs, 2009.
3. Yoh Terada, Kazuyoshi Ikeda, Seiji Saito, Kazuki Ohno and Yukiko Nishimura, ODO2008: A WORKSHOP FOR PROMOTION OF ORPHAN DRUG DISCOVERY AND DEVELOPMENT IN JAPAN, International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs, 2009 (ポスター発表)
4. 西村由希子、希少性疾病分野研究に関する支援状況の国際比較、研究技術計画学会、2008.
5. Yukiko Nishimura, Study for the possible creation of new orphan drug market based on the start-ups from the universities in Japan, *The International Society for Professional Innovation Management*, 2008, Tours,

France.

6. 村松浩幸、丸幸宏、西村由希子、小学校における知財絵本読み聞かせの教育効果、日本知財学会、2008
7. Yukiko Nishimura, Yoh Terada and Kazuki Ohno, *STUDY FOR THE REVISION OF THE PHARMACEUTICAL AFFAIRS LAW AND ORPHAN DRUG MARKET IN JAPAN*, International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs (ポスター発表), Washington D.C, USA, 2008.
8. Yukiko Nishimura, Study for the possible creation of new orphan drug market based on the start-ups from the universities in Japan, *The International Society for Professional Innovation Management*, 2008
9. 西村由希子、平田徳宏、米国大学における(胚性)幹細胞(Stem cell/ES cell)研究分野の技術移転、日本知財学会、2007
10. 西山哲史、丸幸弘、高橋修一郎、西村由希子、科学実験と合わせた新しい知財教育、日本知財学会、2007
11. Katsuya Tamai and Yukiko Nishimura (Co-first author), CURRENT SITUATION OF UNIVERSITY - INDUSTRY COLLABORATION AND TECHNOLOGY TRANSFER IN JAPAN, Oxford Conference on Innovation and Technology Transfer for Global Health, 2007, Oxford, UK
12. 隅蔵康一、西村由希子、知的財産マネジメント人材の育成手法、日本機械学会、2006.
13. Yukiko Nishimura, Examination of the Regional Development Plan centering science and technology from universities in Japan, International conference on management of technology, 2006, Beijing, China
14. 西村由希子、大学を核とした地域振興策における科学技術分野ごとの比較検討及び今後の展望、日本知財学会、2006
15. 若尾正示、丸幸宏、西村由希子、特許絵本を用いた知財教育、日本知財学会、2006.

[図書](計 2 件)

1. Prabuddha Ganguli (Editor), Ben Prickril (Editor), Rita Khanna (Editor) (Chapter 3を執筆(西村由希子)) \ Wiley, *Technology Transfer in Biotechnology: A Global Perspective*, 2009.
2. 知的財産マネジメント研究会 知識流

動システム分科会著「はつめい・はっけんシリーズ かずくん仲間と会社をつくる」(小学生向け絵本)(西村由希子本文執筆担当) KMS 出版、2007.

〔産業財産権〕

○出願状況(計 0 件)

○取得状況(計 0 件)

〔その他〕

・ International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs、学会開催理事(2009～)

・ Oxford Conference on Innovation and Technology Transfer for Global Health 学会理事(2007～)

6. 研究組織

(1)研究代表者

西村由希子(NISHIMURA YUKIKO)

東京大学 先端科学技術研究センター 助教

研究者番号 00361676

(2)研究分担者

なし

(3)研究協力者

大野一樹(OHNO KAZUKI)

知的財産研究推進機構(PRIP Tokyo) プロジェクトメンバー

寺田央(TERADA YOH)

知的財産研究推進機構(PRIP Tokyo) プロジェクトメンバー

PRIP Tokyo メンバー(研究会参加者ら)