



# アンメットメディカルニーズに応える 新薬を生み出す



中外製薬の研究開発費は889億円(2017年)。対売上収益比率は16.6%と、他の製薬会社より相対的に低くなっていますが、これはロシュとの戦略的アライアンスを背景に、効率的な費用投下が可能なためです。この特性を活かして、独自の研究技術の進化を続けており、パイプラインに占める自社創製品数は13品目と充実しています。発売後の製品を見ても、その内容はアンメットメディカルニーズに応えるものとなっており、ロシュ導入品も含め、新薬創出等加算品目の売上構成比率は74%と非常に高くなっています。

## 強み

- バイオをはじめとする独自の創薬技術(差別化を可能にする技術ドリブンの創薬)
- ロシュ・グループとの戦略的アライアンス体制(大規模な化合物ライブラリーをはじめとするインフラ共有)

## 課題

- 世界的な新薬創出の難易度上昇と費用高騰
- 破壊的技術の進展による創薬パラダイム変化の可能性
- 行政によるイノベーションの価値評価基準が未整備
- 国内外における優秀な研究者獲得インフラが未整備

## 中外製薬のイノベーションへの こだわりと、その成果

1928年のペニシリンの発見以来、医薬品は飛躍的な発展を遂げてきました。有機合成技術、ゲノム技術の応用、抗体医薬・分子標的治療薬の登場など、革新的な治療薬が医療に大きく貢献してきました。しかし、病気で苦しむ人は世界にまだまだ存在します。

製薬会社のビジネスモデルは多様ですが、中外製薬では、その技術・知見・アライアンス体制などを踏まえると、アンメットメディカルニーズに対応する新薬を生み出し続けることこそ、中外製薬の存在意義であり、世界の患者さんへの貢献につながるものだと考えています。後発品の開発・販売や海外の販売ネットワーク拡大などには経営資源を割かず、イノベーションを通じたファーストインクラス・ベストインクラスとなりえる革新的な新薬の創出に確たるこだわりを持っています。

こうした考えのもと、実際の成果としても、独自の抗体改変技術(リサイクリング抗体技術やバispシフィック抗体技術など)を数多く発表するほか、新薬創出の難易度が高まる業界にあって、自社創製品を継続的に生み出し続けています。中でも、米国FDAよりBreakthrough Therapy指定を5件で受けていることは、グローバル水準の創薬力の高さの証明ともなっています。

## 革新的な創薬を可能にする ビジネスモデルと技術

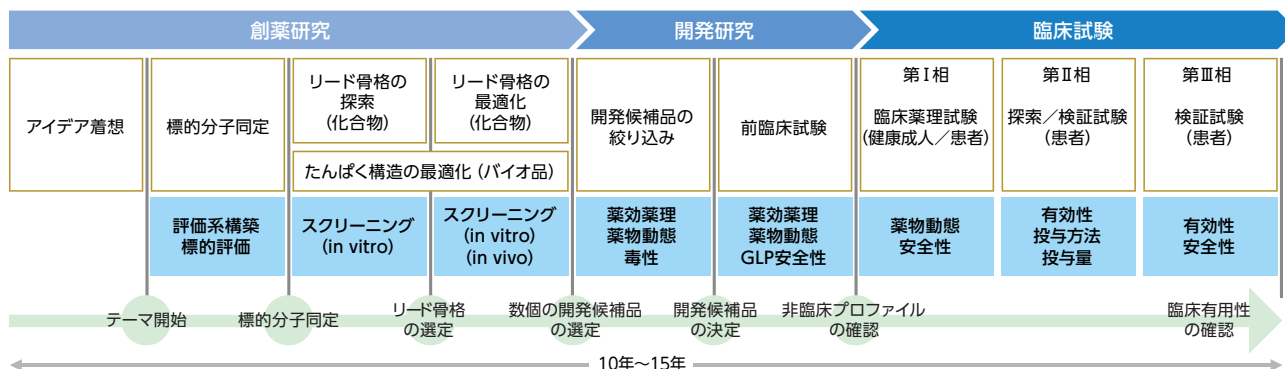
中外製薬が、革新的な創薬を続けられる背景には、まず、革新的な研究に経営資源を集中投下できるという戦略的特徴があります。ロシュからの導入品を効率的に国内で開発し安定的な収益基盤にできること、自社創製品のグローバル開発をロシュと共同で行えることなどから、自社の画期的なプロジェクトに人員や資金を集中させることが可能となっています。さらに、ロシュ・グループの持つグローバルな研究基盤が活用できることも強力な優位性です。ハイスループットスクリーニング<sup>\*2</sup>に用いる大規模な化合物ライブラリーをはじめとする研究資源やインフラストラクチャーをロシュと共有できることは、資金面・効率面などで非常に大きなメリットをもたらし、研究生産性の飛躍的な向上につながっています。

そして、このビジネスモデルの生命線となっているのが、抗体改変技術をはじめとする創薬技術です。ロシュにとっても、中外製薬が世界屈指の創薬技術を有するからこそ、グループ全体の成長につながる革新的な製品のグローバル販売が可能になり、WIN-WINの関係を構築することができます。中外製薬は30年以上前からバイオ医薬品の研究開発に取り組み、旧・日本ロシュにおいても、合成医薬品の

<sup>\*1</sup> 特例拡大再算定の対象となった「アバスタチン」については、2017年時点で新薬創出等加算の対象品の要件を満たしたと推定し、新薬創出等加算品目としてカウント

<sup>\*2</sup> 構造が多様で膨大な数の化合物から構成される化合物ライブラリーを、自動化されたロボットなどを用いて高速で評価し、創薬ターゲットに対して活性を持つ化合物を選別する技術(high-throughput screening)

## 新薬開発のプロセスとマイルストーン



創製に卓越した技術を確立してきました。外部からの技術も取り入れつつ、長期にわたって業界に先駆けた取り組みによる知見・経験を培ってきたことで、連続的に技術を進化させ、柔軟かつ適切に創薬に応用できる基盤が築かれています。

こうした研究や技術に対する真摯な姿勢は中外製薬のアイデンティティとなっており、ロシュ・ジェネンテック社やアカデミアなどの研究開発パートナーとも互いの技術力・専門性を認め合い、有意義な議論ができる関係を構築しています。基礎研究も含めた探索研究段階では、新たなシーズの取得に向けてオープンイノベーションが不可欠ですが、ここでも、中外製薬の高い技術力を背景に実りある外部ネットワークを構築できています。

### 自らの革新による新薬創出の加速

一方、今後の創薬環境は、ますます新薬創出の難易度が上がるとともに、AIやIoTといった破壊的技術の進展により、大きく様変わりしていくことが想定されます。こうした中、継続的にアンメットメディカルニーズに対応していくためには、創薬スピードを高めると同時に、これまでの技術の延長線上にはない新たな革新を遂げていくことが不可欠だととらえています。

スピードの面では、2012年にシンガポールに設立した中外ファーマボディ・リサーチ(CPR)において、新規抗体医薬品の創製に特化することで、抗体改変プロジェクトの連続創出に向けた創薬スピードの加速を図っています。2016年には、CPRで創製した「SKY 59」や「ERY974」が臨床フェーズ入りしています。

技術の面では、次世代の創薬基盤を確立していくため、IBI 18でも重点テーマとして挙げている、中分子創薬技術とがん・免疫研究に注力しています。これまでは創薬が困難であったシーズに対しても効果が期待される中分子創薬については、抗体医薬品と低分子医薬品、双方の創薬で培ったノウハウから、他社に先駆けて技術課題の精査や基盤整備に取り組んでおり、具体的に中分子医薬品の創出が視野に入ってきています。がん・免疫研究においては、将来に向けたさらなる基盤強化を目指し、2016年5月、大阪大学免疫学フロンティア研究センター(IFReC)との包括連携契約を大阪大学と締結。IFReCが有する世界最先端の免疫学研究と、中外製薬がこれまで培った独自技術や創薬研究のノウハウが組み合わせられることで、革新的な新薬の創製が期待されます。また、2015年にロシュグループ入りしたFoundation Medicine社が有する極めて高度な遺伝子情報解析技術なども活用し、次世代の個別化医療をはじめ、創薬そのものの革新を図っています。

#### IFReCと中外製薬の連携スキーム

1. IFReCは従来どおり、学術的に自由な基礎研究を行う
2. IFReCが取り組む自主研究テーマ\*1について、IFReCが中外製薬へ年に2回研究成果の定期的開示(報告)を行う
3. 中外製薬は、報告された研究テーマから共同研究に進む研究テーマ\*2を選択
4. IFReCの研究者が中外製薬と共同研究を実施
5. 非臨床研究後期以降は、中外製薬が単独プロジェクトとしてトランスレーショナルリサーチを実施

\*1 第三者と契約済みのテーマを除く

\*2 共同研究に進むテーマ数は、IFReCと中外製薬の両者にて協議のうえ決定



FOCUS

## 中分子創薬の技術確立が進展。 この次世代医薬品を 患者さんに届けたい

創薬基盤技術研究部  
中分子創薬グループ  
飯田 健夫

今、世界には数多くの画期的な新薬がありますが、これらは疾患の原因のごく一部の標的にしか作用できていません。いまだ病気に苦しむ方々に向けて、私たちが担う役割として導き出した答えの一つが、中分子医薬品の創製でした。

細胞の中に入り込めるものの、たんぱく質同士の相互作用を阻害することは困難な「低分子医薬品」と、標的と強く特異的に作用することができる半面、その大きさから細胞の中に入ることができない「抗体医薬品」。これら双方の利点をあわせ持つのが中分子医薬品で、細胞の中に入りながら、標的に強く、特異的に作用することで、今まで狙うことができなかった標的にアプローチできる次世代の医薬品です。

中外製薬では、10年以上前から基礎研究を続けてきました。この数年では、その取り組みを加速させ、現在では、中分子化合物ライブラリーの構築や、化合物のスクリーニング法などの基礎的な創

薬技術を確認しています。また、さまざまな創薬プロジェクトへの応用が始まっており、次々と候補化合物が取得されている段階です。

これまで、数多くの課題がありましたが、バイオテクノロジー、化学、薬効薬理、薬物動態、安全性など、あらゆる創薬の専門家が連携し、よりよい化合物や評価手法をつくり上げ、現在の進展を見ることができました。チームメンバーが皆、患者さんのためのチャレンジを続けた成果です。

しかし、これからも前例のない挑戦は続きます。この新しい種類の医薬品を患者さんに届けるべく、中外製薬は全社一丸となって、研究だけでなく、製造・臨床開発・承認申請など、あらゆる段階で直面する課題を乗り越え、世界に先駆けた中分子医薬品の創製に取り組んでいきます。