



8-1 医薬品が開発されて患者さんに届くまで

キーワード ・創薬の流れ、時間、かかる費用 ・日本における創薬の課題

● このテーマで目指すゴール

- ・ 医薬品の開発のプロセスや時間、現在の課題を理解する
- ・ 患者アドボケートとしてできることを考えてみる
- ・ 医薬品開発に関して患者アドボケートとして動くことができる

患者さんからの質問

医薬品の開発には時間とお金がかかると聞きますが、実際どのくらいかかるのですか。

**【寄稿】 日本製薬工業協会
患者団体連携推進委員会**

●新薬創出の流れ <図1>参照

新薬の開発は、創薬シーズ（注1）である新規物質の発見と創製を行う「基礎研究」から始まります。選び出された新規物質は、動物や培養細胞を用いて有効性と安全性を研究する「非臨床試験」という段階に進みます。新薬創出に至るこれらの一連の過程で、製薬企業とアカデミア（大学等）の研究機関・医療機関との連携、協力が行われます。

有用性があると認められた医薬品の候補物質は、健康な方や患者さんを対象とした「臨床試験（治験）」へ進みます。「臨床試験」は病院などの医療機関で実施されます。最初のステップでは少数の健康な人を対象に副作用などの安全性を確認します。次のステップで少数の患者さんを対象に、有効で安全な投与量・投与方法などを確認します。このステップで有用性が認められた後、多数の患者さんを対象とした有効性・安全性を検証するための臨床試験が行われます。一連の臨床試験を通じて有効性・安全性などが証明された後に、医薬品医療機器総合機構での審査と厚生労働省による薬事承認を経て、初めて「新薬」が誕生します。その後、薬価収載（注2）され患者さんに使用されるようになります。「新薬」が誕生する成功確率は、候補化合物数から数えて約3万分の1、9年～17年の期間と、数百億円の費用がかかります。

発売後は臨床試験段階とは異なる環境で、より多くの患者さんに使用されることになります。従って、臨床試験段階では確認できなかった安全性の問題等が発生する可能性がありますので、発売後も安全性や有効性のデータを引き続き収集します。

●医薬品の開発における課題 <図2>参照

2012年で見ますと、日本は、米国、スイスに次ぐ世界第3番目の新薬創出国で、ここ10年間2~3番目で推移しています。また、2011年の世界の売り上げ上位30品目を見ますと日本オリジン（独自開発）の品目は4品目ですが、11品目のバイオ医薬品、抗体医薬品の中には日本オリジンの品目はありません。また、現在日本で販売されているがんの分子標的薬（注3）は20品目ありますが、日本オリジンは1品目となっています。この分野において残念ながら日本は大きく世界に遅れを取っており、早急に追いつく必要があります。

創薬シーズが年々減少することに加え、開発期間の長期化と成功確率の低下傾向が顕著となっており、世界の製薬企業はいかに創薬シーズを探し出し、短期間に開発するかが課題となっています。世界第1位の新薬創出国の米国を見ますと、1998~2007年で、米国オリジンの新薬は、アカデミア（大学等）やバイオベンチャー（注4）由来が約60%で、企業の研究由来は50%以下となっていますが、日本はアカデミアやバイオベンチャー由来が20%弱です。欧米には、アカデミアで見つけられた創薬シーズを製薬企業と結びつけるバイオベンチャーがあり、創薬にするまでの一貫的な戦略がありますが、日本にはこれがないというのが、創薬における1つの欠点であると言われています。今後、日本で、アカデミアの創薬シーズをいかに医薬品にできるようにしていくかが課題となっています。

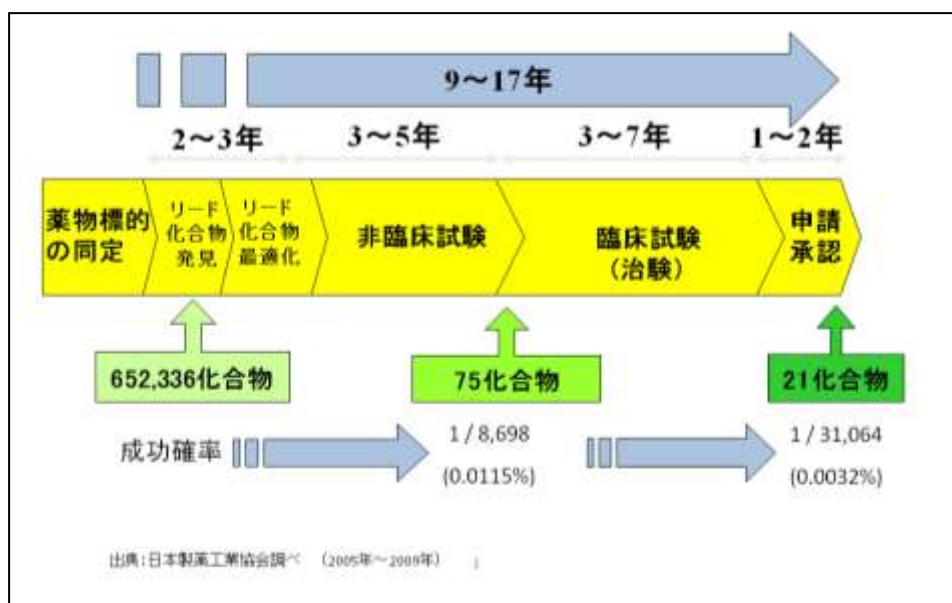
また、患者さんの求められている医薬品を短期間で医薬品にするためには、いかに臨床試験の期間を短縮し完了するかが大きな課題です。最近ドラッグ・ラグ解消のため、日本、米国、欧州等で同時に治験を実施する国際共同治験が増えており、この場合、治験が同時に完了する必要があり遅れることはできなくなっています。国の施策として、早期・探索的臨床試験病院、臨床研究中核病院、治験ネットワーク等の整備がされていますが、まだまだ日本の治験は海外と比べ遅れがちです。日本の場合、患者さんが全国のどの医療機関に通院・入院されているかの把握がまだ難しく、多くの医療機関と治験契約が必要で手続きに時間を要すること、従って一斉に医療機関で治験がスタートできない等の問題があるからです。解決するためには、一層の医療機関、患者さんの協力が必要となります。文部科学省と厚生労働省は平成24年3月30日「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」を取りまとめ、この中の「国民・患者への普及啓発」の項に、「意義に関する普及啓発」、「実施中の臨床研究・治験の情報提供」があります。製薬協は厚生労働省とも相談しながら、治験の意義の普及、患者さんが治験に参加しやすくなるための提供する治験情報の内容、公開方法等検討しています。また、企業は医薬品の開発に関連し、関係患者団体の意見を伺うことも行っています。

今後、ゲノム（遺伝子）やRNA（リボ核酸）、たんぱく質等のオミックス情報（生命分子の網羅的情報）を中心にして生命のシステム、メカニズムがより一層解明され、それに基づき病気の発症メカニズムの解明が進んでいくと考えられます。これにより、病気の初期の段階で予兆が発見できたり、的確に治療できる創薬シーズ、あるいは高度な再生医療等の治療法等が開発されていくことが期待されます。

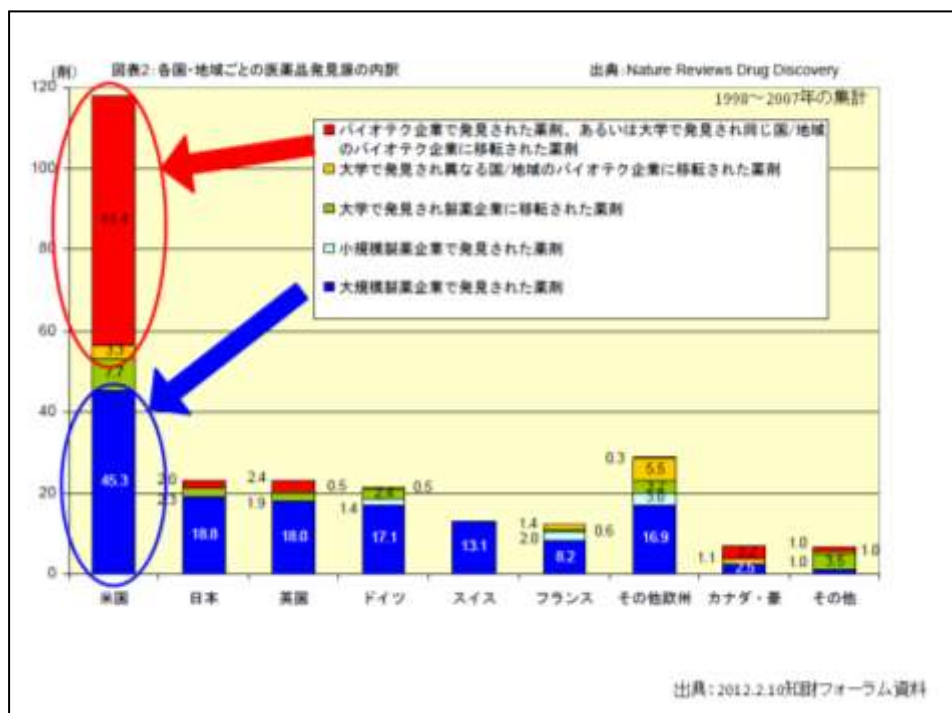
- (注1) 創薬シーズ：将来的に医薬品となり得る種（シーズ）。
- (注2) 薬価収載： 医薬品は厚生労働省の承認を経た後に、厚生労働省により薬価基準価格が定め（薬価基準に収載）られ、患者さんの元に届きます。
- (注3) 分子標的薬：体内の特定の分子を狙い撃ちし、その機能を抑えることによって病気を治療するくすりです。抗がん薬の多くは、がん細胞だけでなく正常な細胞も攻撃してしまうので、重い副作用を発現させることも少なくありません。分子標的薬は、病気に関与する分子のみを攻撃するので、がん細胞に対する効果がより高くなっています。
- 日本製薬工業協会『くすりの役割と未来』から引用
http://www.jpma.or.jp/medicine/med_qa/info_qa55/q48.html (2013/10/31)
- (注4) バイオベンチャー：生命工学、生物工学の新しい高度な知識・技術を応用して、新薬や新しい治療技術の研究開発に従事する企業。

次ページに続く

<図 1> 新薬開発の期間、成功確率



<図 2> 新薬発見源の内訳



◇ さらに詳しく知りたい方のために

・ 日本製薬工業協会 『くすりについて』

<http://www.jpma.or.jp/medicine/> (2013/10/31 アクセス)