

日本の創薬力強化のために

神戸アイセンター
ビジョンケアグループ



高橋政代



どの位置が心地よいか

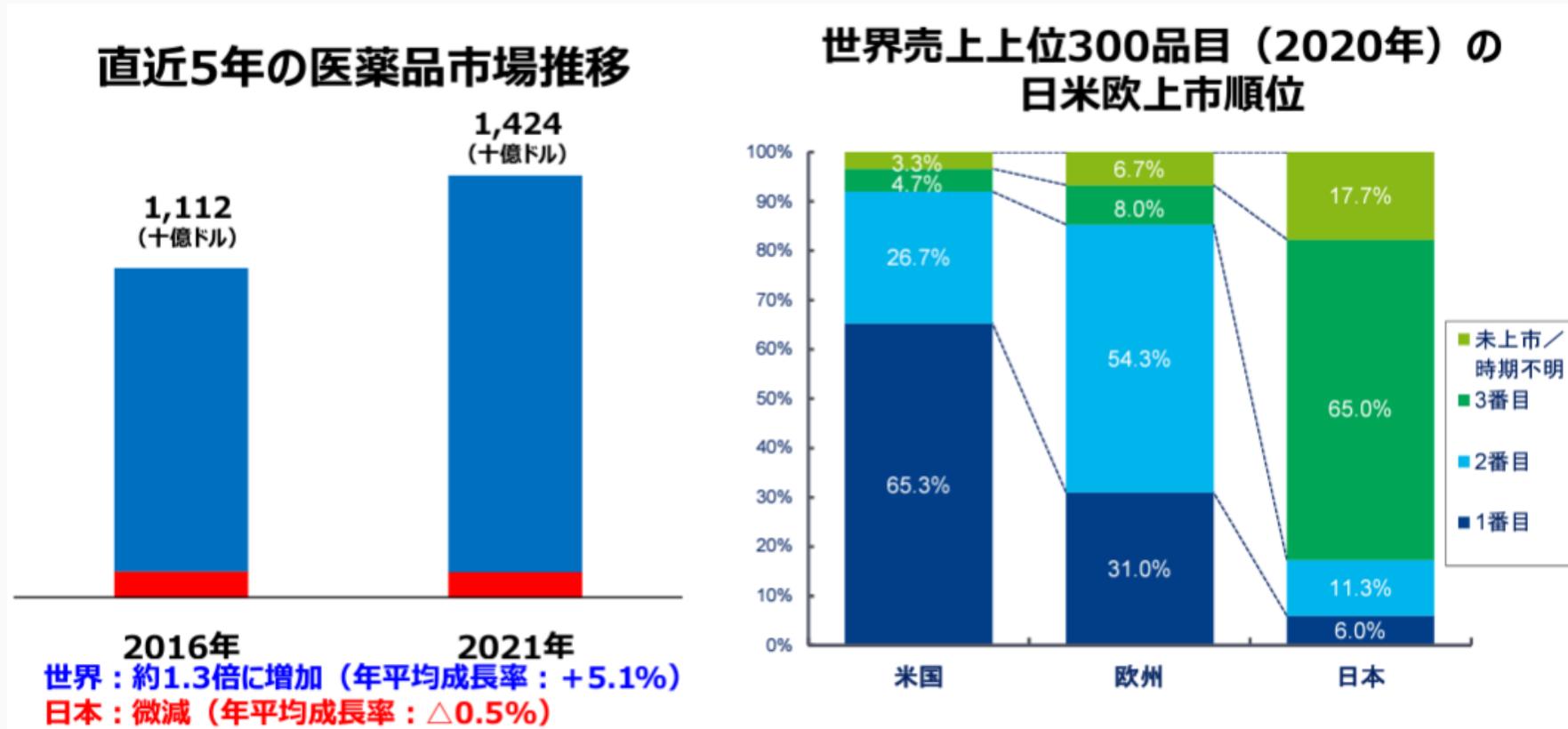


欧米のまねでない大戦略の必要性

- パーツの改善だけでなく大枠から見た**大戦略**（死の谷だけか）
- 市場規模の拡大—**成長産業としての視点**（**イノベーティブな医療への財源**）
- **シーズ創出の場**の問題（アカデミア、医療現場の改善は必須）日本の優位性 医師の開発—再生医療）
- 規制の課題解決 **欧米のまねでないルール**（再生医療に特化した法律）
- 創薬のみでなく**医療産業としての視点**—良質の医療を低コストで提供してきた「日本の医療」は産業としても強みを持つ

大戦略の欠如

日本では保険診療による医療費抑制策が一因 世界で成長産業の医療を、日本は抑制している



日本の医薬品市場は過去5年で縮小しており(世界市場は5%成長)、その一因として、上市される新薬の数が欧米に比べ、日本では少ない...

安全性確保法下の再生医療の数

再生医療等提供機関一覧（2020年12月厚生労働省のホームページ）

第一種再生医療 3件（現在 7件 全例 同種臍島移植）

第二種再生医療 724件

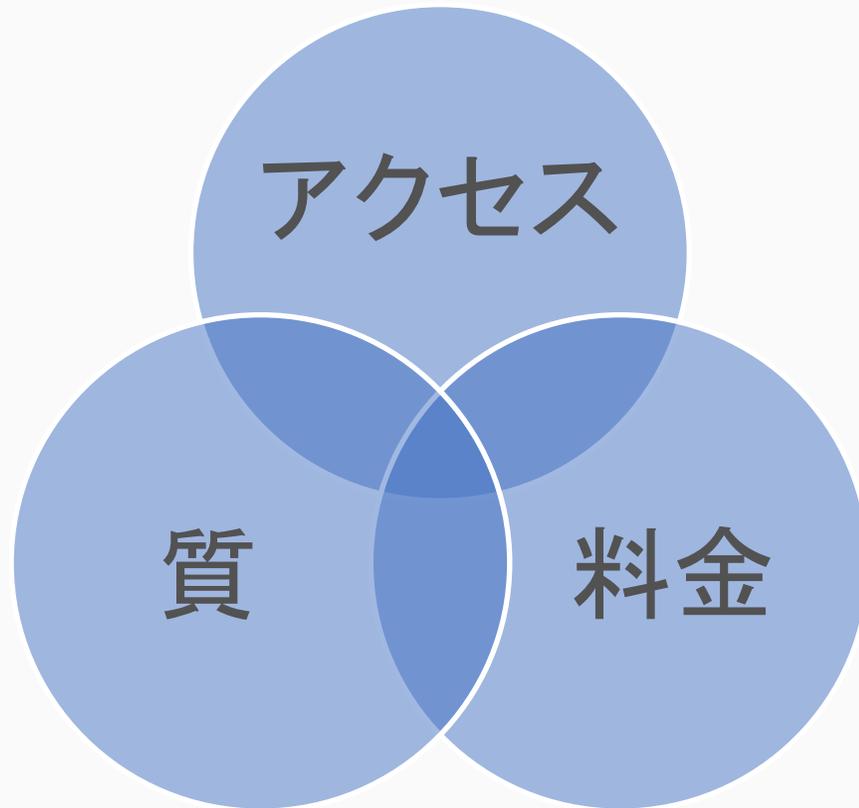
第三種再生医療 3342件 = 自由診療による細胞治療

「エビデンスのはっきりしない治療」 を、厚労省HPに掲載している状態



イノベーティブな医療を抑制し、
エビデンスのない自由診療が成長している国

1980年代 WHOが世界NO1と認めた日本の医療



最高のバランス

既に医療者の犠牲あり

(1990年代ヒラリークリントン来日
日本の医師は聖職者 だがクレイジー
米国の医師にこの働き方をさせるのは無理)

2000年代 それぞれが巨大化して持続不可能

アクセス

質

料金

医療費抑制なのに
理想の医療の幻影

を引きずって抜け出せない

<解決策>

アクセス制限（英国）
民間保険でカバー

価格高騰（米国）
民間保険でカバー

質低下（日本）

治療薬の価格引き下げ
世界の治療が入らない
病院の赤字・疲弊

日本の医療システムのねじれ問題

1. 保険点数は社会主義的価格で 病院経営は資本主義経営
2. 医療費抑制なのに成長産業のためのFDAのルールを採用している

規制 ≡ 価格なので

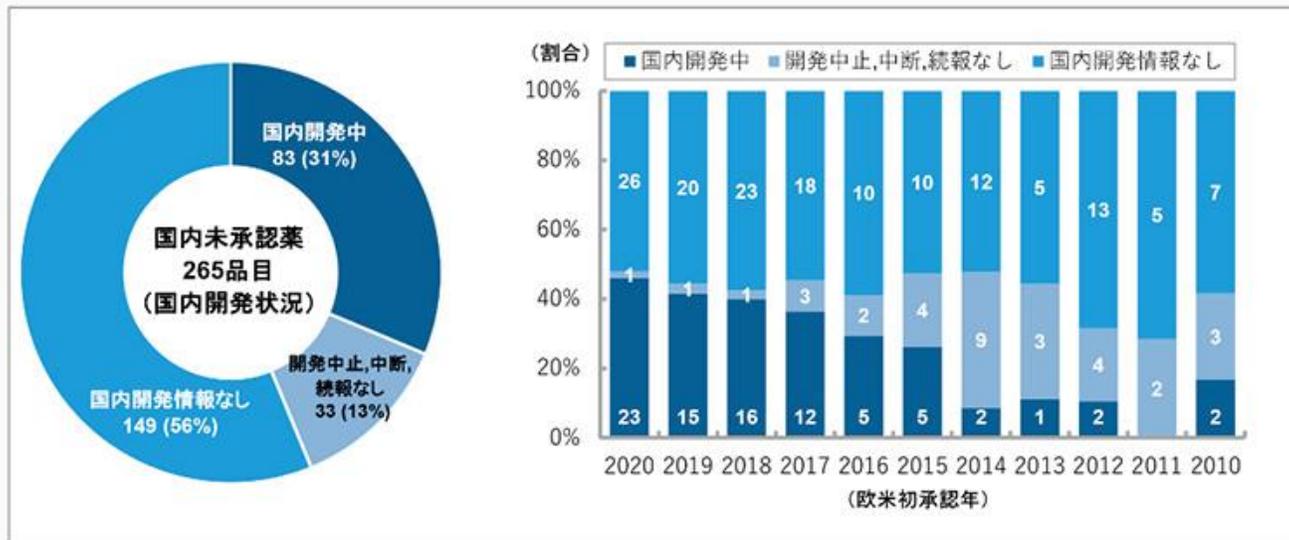
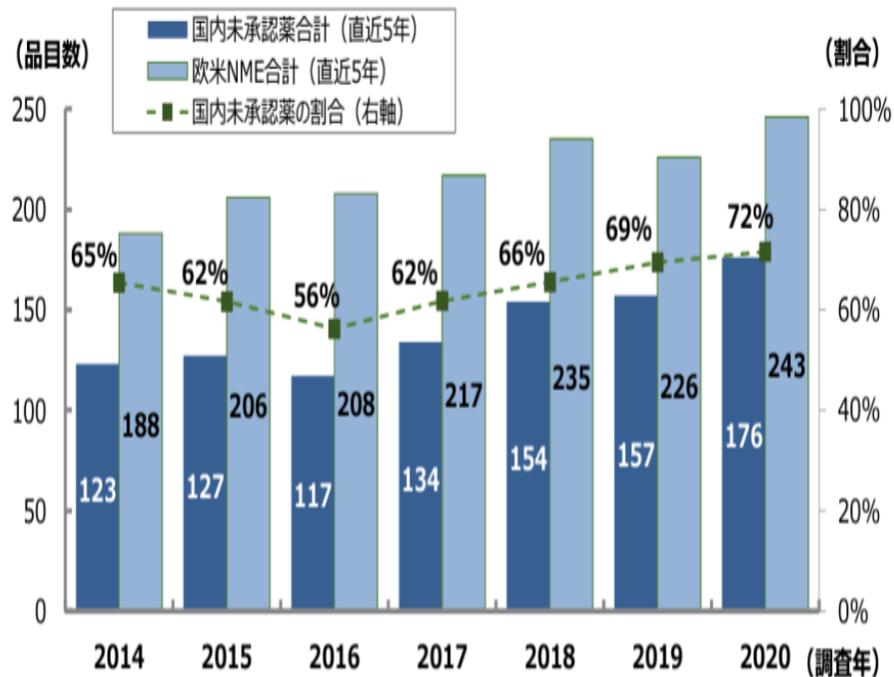
規制と医療システムはリンクさせて考えなければならない



医療システムの変革 or 規制の変革

日本では保険診療による医療費抑制策を一因に
ドラッグロス: 新薬の多くが日本で治験がなされない

過去7年間の国内未承認薬の割合



そのうち7割近くが日本に入る予定なし

国内未承認薬の割合の変遷を見ても、2016年より上昇傾向にあり、7割の新薬が日本では上市されない...

医療費が高額となる再生医療についても同様に、採算性の課題から日本での実施が困難になる可能性大

高度医療崩壊の流れ

医療費抑制 一律の価格 突然の保険点数削減

難症例を治療する病院ほど赤字 給与低迷

優秀な人が楽で高給の分野へ流出 重要なところに
医師がいない

保険診療の実際 網膜遺伝子治療

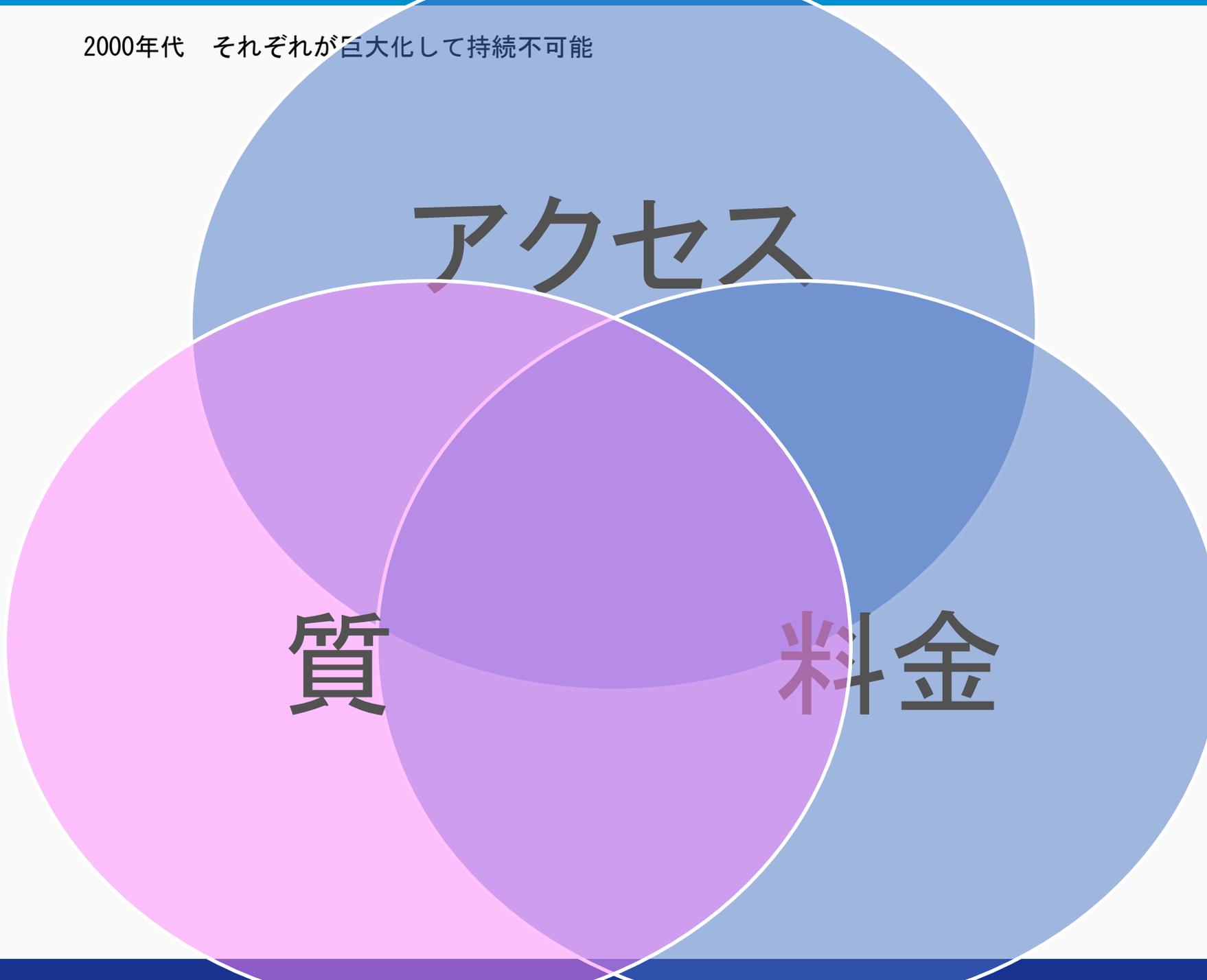
- ラクスターナ (RPE65遺伝子) 40か国目
2023年承認 保険収載

薬剤費 約5000万円 → ビジネスモデル成り立たない
手術代 10万円→約40万円 ほとんどが手術材料費
遺伝子診断エキスパートパネル 0円
+その間にできる白内障手術の損失 **大赤字**

* CARTも病院が赤字

解決の選択肢

- 1) 公的医療費の毎年5%増
- 2) 公的医療費内の旧来の医療費毎年5%削減
- 3) イノベーティブな医療（質部分）に別財源



アクセス

質

料金

第3の選択肢

パイを増やす
民間の保険
＝先進医療・
シン自由診療

互助的民間保険型高度医療により解決可能な課題 (八方よし)

- 医療費高騰の防止 財務省 OK
- 自由診療のエビデンス 厚労省 OK
- 医療産業の成長 経産省 OK
- 医療現場のシーズ開発、新規適応** 研究医・研究者OK
- 自由診療で価格設定 余裕 研究可能 大学・基幹病院 OK
- 世界で使われている治療 互助的保険 患者 OK
- 適正価格 企業 OK
- 民間保険の新たな役割と広がり 保険会社

民間保険型高度医療

イノベーティブ医療として成り立つためのポイント・懸念点

- エビデンスのある自由診療の線引き（学会のガイドライン）
- 価格のばらつき（学会による施設認定、価格承認）
 - 上記の条件で民間保険保険商品として成り立つデザイン
 - ガイドラインのみの抑止力不足を民間保険適応でカバー
- リアルワールドデータでの将来的保険収載の道

エビデンスレベル

Minds診療ガイドライン作成の手引き2007より
Medical Information Distribution Service

I	システマティック・レビュー／RCTのメタアナリシス
II	1つ以上のランダム化比較試験による
III	非ランダム化比較試験による
IVa	分析疫学的研究(コホート研究)
IVb	分析疫学的研究(症例対照研究、横断研究)
V	記述研究(症例報告やケース・シリーズ)
VI	患者データに基づかない、専門委員会や専門家個人の意見

臨床研究、先進医療、治験を経た治療
レジストリでデータ蓄積

参考) FDAのRWDでの承認への動き



日本眼科学会 WG

再生医療の
エビデンスレベルと治療施設要件

学会のガイドライン・レジストリWG運営体制（案）

再生医療コンソーシアム？ : 他の科にも拡大する可能性

基幹学会

理事会

メンバー: 八方よしチーム

厚労省、経産省、PMDA、金融庁、学会（眼科、再生医療）

大学病院、患者会、製薬企業、保険業界、医事法学・倫理、医療統計

レジストリ
検討WG

役割:

- レジストリの運営管理(次のスライド)
- 症例検討委員会の運営管理: 再生医療の適応を判定するエキスパートパネル(治療が一般化するまで設置)

ガイドライン
検討WG

役割:

- 再生医療に関する包括的なガイドラインと下位ガイドライン(それぞれの部位別に診断指針、選択基準、診療指針)の作成・改訂(ガイドラインは数年おきに進捗をふまえて見直し)
- 施行施設や適応症例の設定

レジストリ
一般社団法人

協賛企業

民間保険型高度医療

学会主導の自由診療で行う利点・今後必要な施策

利点

- 法律や制度の改正なくすぐに行える。 **実現可能**
- 再生医療など先進的医療から始め順次広げることが可能

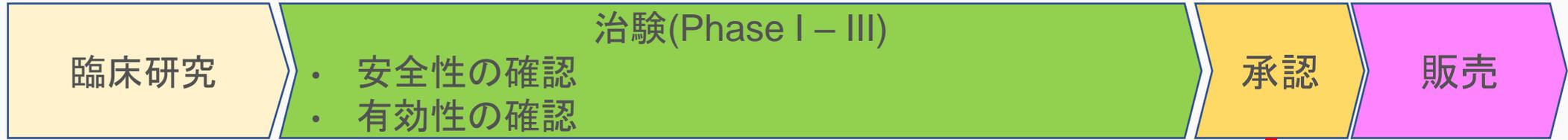
今後必要な施策

- 保険設定のためのデータ解析。 **学会と保険会社との共同研究**
- 広まればさらに **上位のコンソーシアム** 構築
- **リアルワールドデータ** で保険収載への道を制度化

遺伝子細胞治療における複数の開発法

医療者（学会）が関与する段階

従来

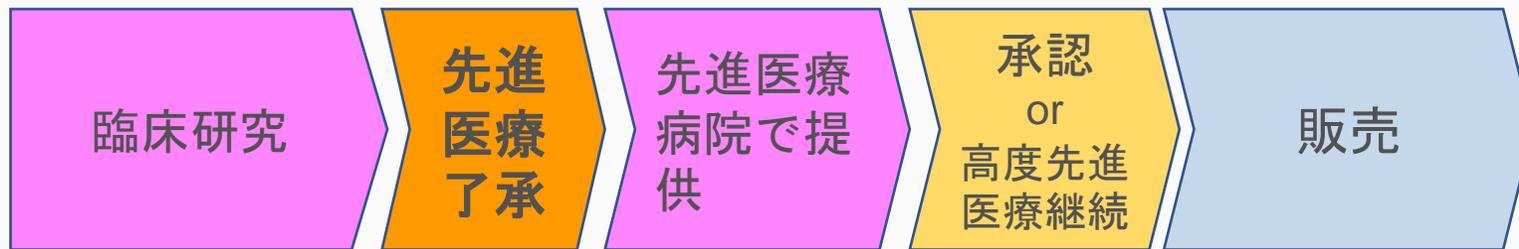


日本で先行している承認制度

条件付き承認



先進医療



自由診療



グローバル展開の重要性

日本のエコシステムvs米国のエコシステム

日本のエコシステム

- スタートアップは次々生まれている
- VC（ベンチャーキャピタル）も生まれている
- （CDMOも不十分だができてきている）
 - すでにエコシステムはできつつある
 - しかし上場して企業価値100億円規模

規模と経験の問題

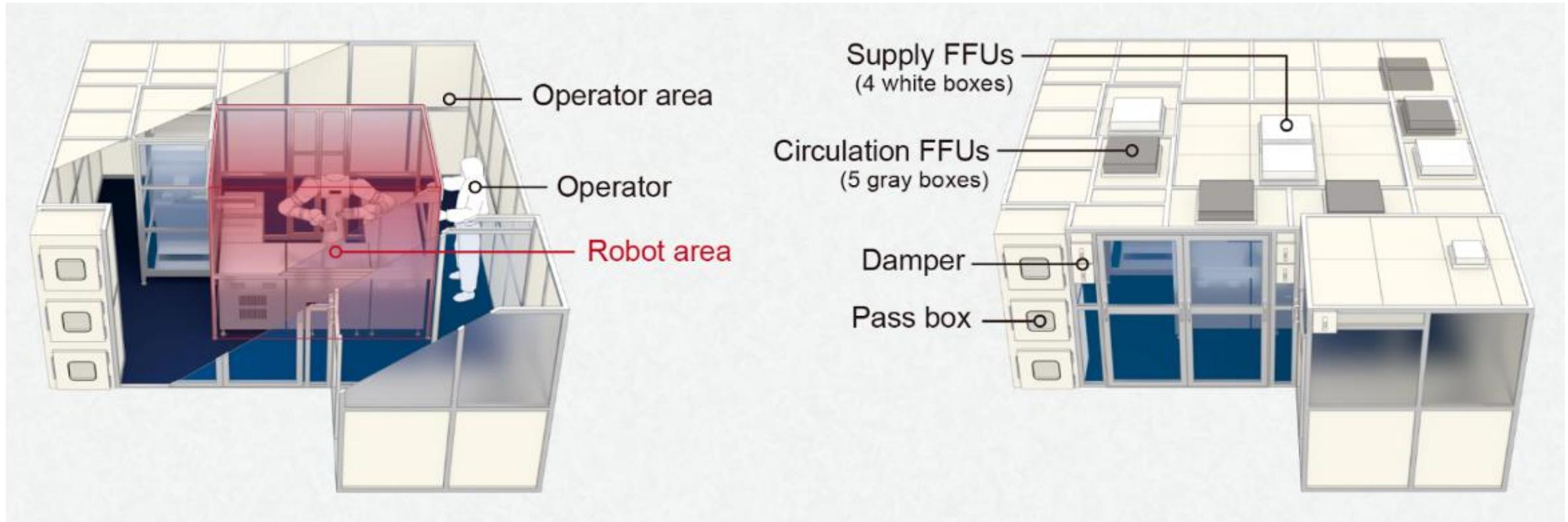
V C
ビジネスサイド人材

アメリカのエコシステム

- 1社で2兆円をこえる利潤を出してきた一流のVCたち
- 上場前の資本調達が100億から数百億円規模
- （韓国CHA大学が米国のCDMO買収し世界5番目のCDMO建設予定）
 - すでに完成されたエコシステム 同じ形を後追いするのか

Automation

Maholo is situated within grade A environment



グローバル展開の重要性

日本だけでまとまるのではなく、世界とコネクトする

- 一流の海外VCのリードと組む
- 日本のVCが世界のシーズに投資する
- CVC（企業VC）の活用 より長期の投資でユニコーンを育てる源に

参考 JPMorgan week @ San Francisco

世界の動向の中で日本の優位性を見つける、育てる

- FDAの動き（再生医療遺伝子治療室設置 accelerate approvalを強調
→日本の優位性がゆらぐ可能性）
- 遺伝子治療のビジネスモデル 市場により2極化
希少疾患の遺伝子治療の問題 規制緩和による日本でのスモールビジネス確立
インバウンド医療

まとめ

- シーズ開発現場の整備
- イノベーティブな医療開発への財源の確保
- 世界と共存するエコシステム
- 規制の緩和による先進的医療の促進、世界からの集積
- 先進的医療など良質な医療のインバウンド（例、羽田 中之島）
- 製品だけではなく、医療の輸出（AIの活用で医師の負担軽減）