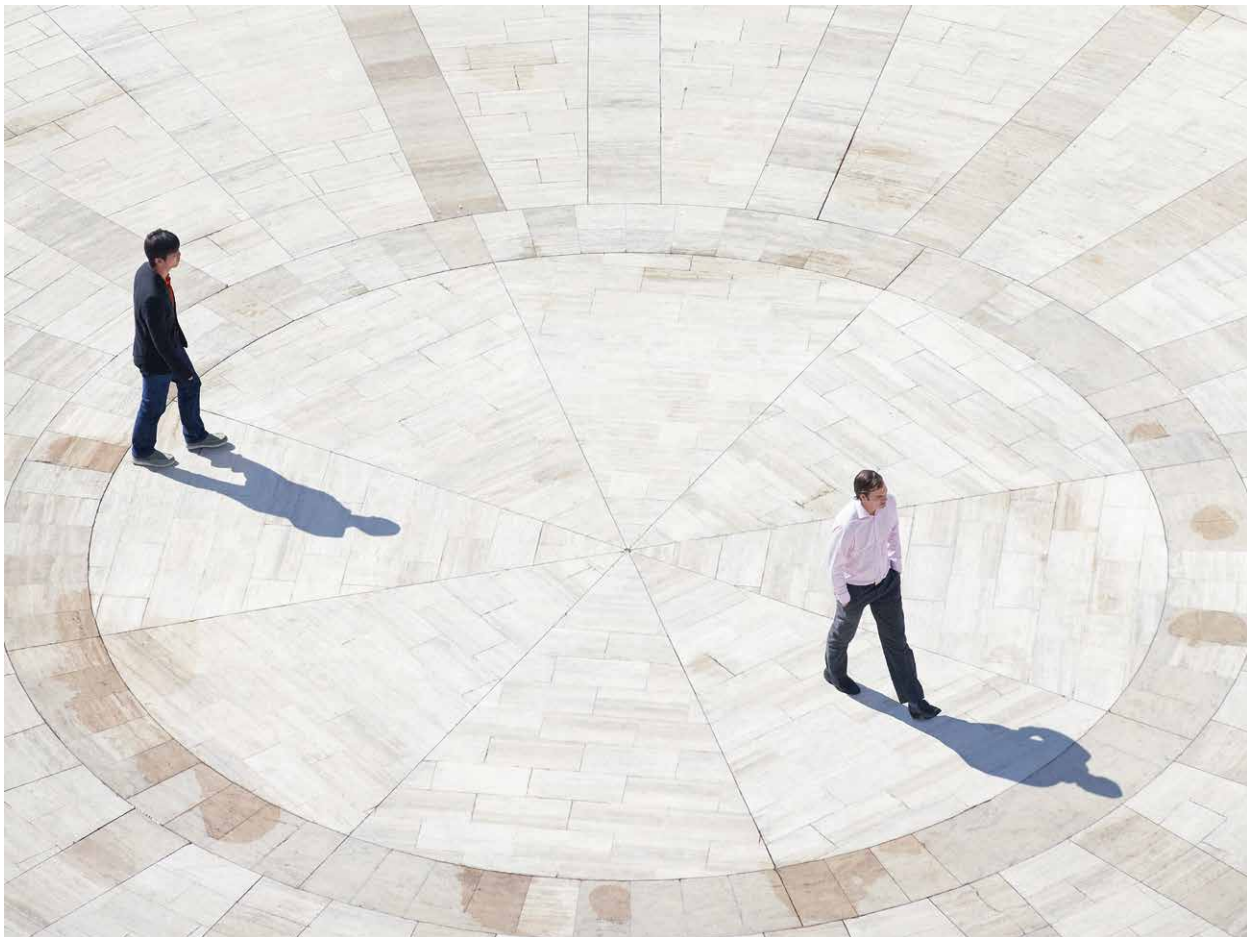
医薬品業界の未来がこれほど有望に見えたことはなく、これほど不吉に見えたこともない。これからの10年、科学・技術・社会経済面での大きな変化により、業界の上昇機運は高まるが、その上昇機運にうまく乗るには、重大な決断が先決である。

ビジョンから決断へ
ファーマ2020



pwc

www.pwc.com/jp

目次

はじめに 1
第1章　楽あれば苦あり 2
第2章　成熟市場：化合物から最大限の利益を 8
第3章　成長市場：熱いか冷たいか。適正温度の調整は難しい 18
第4章　研究開発：美しい仮説と醜い事実 24
第5章　ポートフォリオ管理：最高のジャムの選択 32
第6章　企業カルチャー：原因と解決策 38
第7章　結論：ビジョンから決断へ 42
参考文献 43
主要各国指標 48
謝辞 50

2020年に何が起こるかを決定づける条件の多くが、既に出そろっている。しかし、それゆえに医薬品業界の運命が決まっているのかといえば、それは真実ではない。

はじめに

科学技術の大きな進歩に、社会人口学的な変化と医療と貿易の自由化に対する需要の拡大があいまって、今後の10年間、医薬品業界の上昇機運は高まり、患者のケアは劇的に改善されることが予想される。しかし、業界が将来にわたって繁栄を目指すならば、まずは本当にこの業界に将来が「存在する」ことを確認することが先決である。

これまでのファーマ2020レポートでは、今後に待ち受けるものに関するPwCのビジョンを紹介した。最新のレポートのテーマは決断、すなわち次の10年間の好機に乗じるために、今から10年後までの間に製薬会社が下す必要がある決断である。

医薬品業界が直面する根本的な課題は3つあると、PwCでは考えている。

- **高まる顧客の期待**
  ビジネス環境は厳しさを増している。医療保険支払者は医療サービス提供者に対し、コストを低減させるための新たな条件を課し、ますます慎重に医薬品の価値を見きわめようとしている。そして、臨床的にも経済的にも既存の選択肢を上回る新しい治療法を求め、医薬品の優越性に関するいかなる主張をも裏付けるだけの実臨床での確かなアウトカムデータを要求する。

- **R&D生産性上昇に対する不透明感**
  ここ10年間、医薬品業界の新製品件数は横ばい状態である。にもかかわらず、新製品を発見し、開発するためのプロセスは、ほぼ同じである。したがって、生産性が急に上昇するとは考えられない。

- **硬直化した企業カルチャー**
  医薬品業界で主流の経営文化、メンタルモデルや戦略は、この業界が伝統的に頼ってきた方法から何ら変わっていない。商慣行が新しくなったことによって影を潜めているだけである。

もちろん、2020年に何が起こるかを決定づける条件の多くは、既に出そろっている。2020年までに発売される製品は、全部とはいわずとも、ほとんどが既にパイプラインに乗っている。同様に、その時点で舵取りをしているはずの経営陣の多くが、既に役員候補と目されるか、または役員候補として指名されている。そして、大きな組織の風土を変えるには何年もかかるのである。

しかし、だからといって医薬品業界の運命が決まっているのかといえば、それは大違いである。

2020年に向かってチャンスを拡げ、2020年以降さらに有利な状況に身を置く準備を整えるために、今企業ができることは多くあるとPwCは信じている。次ページ以降で、新薬と既存の医薬品の価値を最大限に引き上げ、成長市場向けのビジネスモデルを構築し、R&Dの生産性を高め、企業カルチャーを再活性化するための方法を検証する。その中で私たちは、最も重要な決断が下されなければならないいくつかの分野に焦点を絞りたい。

楽あれば苦あり

「それはおよそ善き時代でもあれば、およそ悪しき時代でもあった。知恵の時代であるとともに、愚痴の時代でもあった。信念の時代でもあれば、不信の時代でもあった」

チャールズ・ディケンズ（Charles Dickens）

チャールズ・ディケンズ（Charles Dickens's）の小説『二都物語』冒頭の文章は、医薬品業界が現在置かれている状況を余すことなく表現している。将来への展望はかつてなく希望に満ち、あるいはかつてなく不安に満ちている。

善き時代

善いニュースから始めよう。科学的基盤が急速に強化され、医薬品に対する需要が増大し、自由貿易に対するかつての障壁が取り除かれようとしている。

科学的基盤の強化

処理能力の大幅な上昇、遺伝学とゲノム科学の進歩や、新たなデータ管理ツールのおかげで、医薬品業界の土台である科学的基盤は飛躍的に向上している。過去半世紀の間に、コンピュータの性能と容量は18カ月ごとに倍増してきた。この革命により、生物医学の研究は変貌を遂げた。2001年には、ヒトゲノム全体の解読に9500万米ドルを必要とした[1]。今では、わずか1,000米ドルのコストで、しかもほんの数時間でそれが可能なコンピュータを、大手メーカー2社が開発中である[2]。

DNAの配列解析を安く行えるようになれば、医師は個人のゲノム情報に基づく診断と治療ができるようになる。そして、一部の国では2020年までに、遺伝子検査が普通の医療行為の一部になる。

大量のアウトカムデータを取り込める電子カルテ（EMR）システムも、技術開発により使用可能になった。成熟市場か成長市場かを問わず、多数の医療サービス提供者が、必要なインフラの構築を進めている。さらに、高度なデータ共有、データ処理、データマイニングにより、研究者間での協力が容易になり、得られたデータの意味を容易に理解できるようになる。

事実上、同時に2つの変化が起きつつある。まず、生物学的データを収集する際の技術が桁違いに改善している。そして、そのデータを合成し分析する技術も、より安価になり、効率性も向上しつつある。これらの進歩全体が追い風となって、医薬品業界はこれまで成長を阻んできた障壁の一部を突き崩すことができるであろう**（右ページ「ビッグデータの大きなリターン」を参照）**[3]。

乳がんの解明におけるこれまでの進歩は、それを如実に表す実例である。長年、研究者らは乳がんが単一の疾患であると考えていたが、1990年、遺伝性の乳がんに関連する最初の遺伝子が発見された。現在までに研究者らはDNAの違いを解明することに成功し、それぞれ独特の遺伝子フィンガープリントを持つ10種類のサブタイプが同定されている**（図1参照）**[4]。

ビッグデータの大きなリターン

最近、ある医薬品業界のマーケティング担当者が次のように指摘した。「あらゆる患者の経験が、今やデータの川となって流れ出しているが、これらを賢く蓄積すれば、患者の健康状態に関する詳細なポートレートを描きだすことができ、さらにほかに患者のデータの川と合流させることにより、疾患の全体像と患者集団全体に関する知識の深い貯水池としてまとめあげることができる」

それがいわゆる「ビッグデータ」に期待されることであり、データの氾濫は常に拡大し続けている。1日に約250万テラバイトのデータが生まれる。そして、パーベイシブな（どこでも可能な）モニタリングと「どこでもインタフェース（Anywhere interface）」の技術が、固い画面を電子機器のインタフェースに変え、種々の治療法に対する患者の転帰に関する大量のデータが、ますます容易に収集できるようになる。遺伝子配列解析の汎用性と組み合わせれば、「なぜ」という問いに対する答えが浮上する。

医薬品研究開発におけるビッグデータの潜在能力は計り知れない。大量の生物学的データと、それを処理するツール、すなわち最先端のアナリティクス、ストリーミング、超並列処理、ドメイン特化型アクセスおよびクエリ技術で武装することで、業界はより効果的で個別化された医療を開発できるようになる。また、対処から予防へと重点を移すことも可能になる。

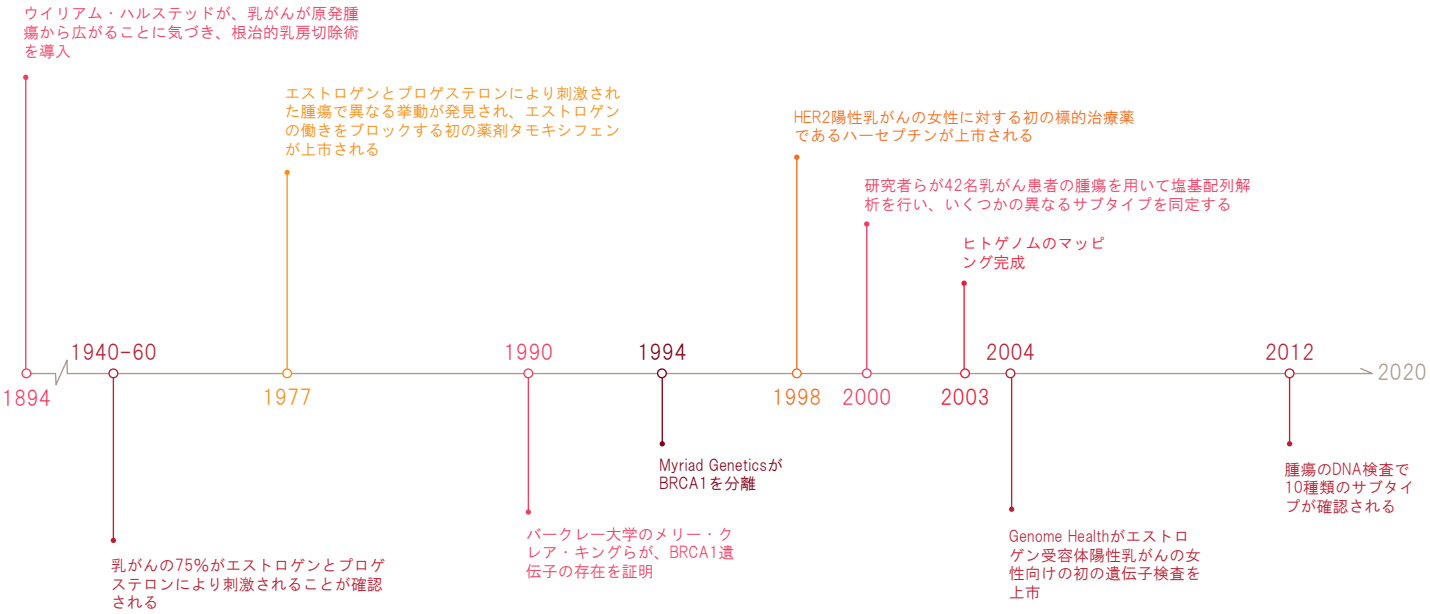
既にいくつかの企業はこの方向性を模索し始めている。ゲノム研究を専門とするCardioDXは、1億件以上の遺伝子試料を分析し、冠動脈疾患に関する23個の一次予測遺伝子を同定した。同社は冠動脈疾患を最も初期の段階に同定できる検査法を開発した。

また、米国のデータおよび臨床検査サービス会社のMedivoは、患者と疾患に関する洞察を得るために、検査記録のデータマイニングを行っている。同社はシンプルで簡単に使えるシステムに、5000万人以上の患者のデータを整理統合し、患者の病気のパターンや、与えられた治療法に対する患者の反応を医師が確認できるようにした。さらに、サノフィは最近、薬剤給付管理会社のMedco Health Solutionsと手を組み、通常の臨床の場において使われた際、異なる治療法をいかに比較するか、という問いに対し、「実臨床」における洞察を得ることができた。

このような知識の飛躍的増加が、乳がんを患う女性たちの予後を一変させた。5年相対生存率は1960年代初期の63％から90％に急上昇したが、その上昇の大部分はこの20年間に起きている[5]。

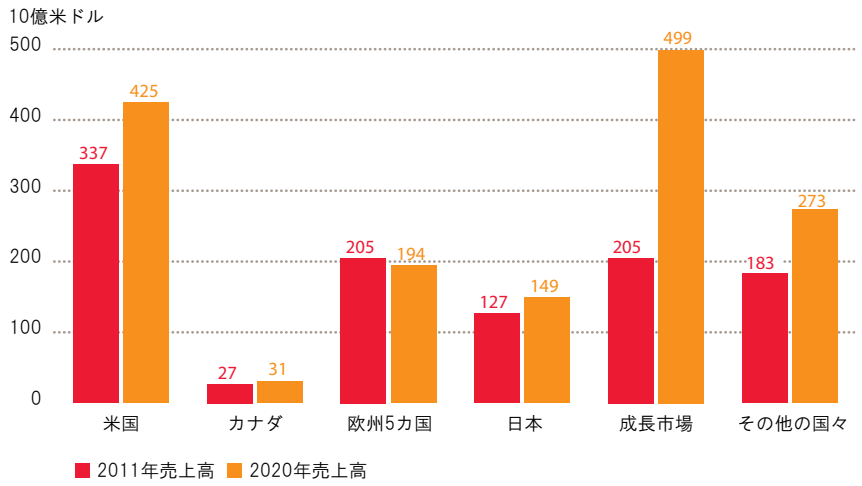
疾患の理解が進んだことで、新たな医薬品、診断法、研究テーマが生まれた。たとえば、ベンリスタはヒトゲノムのマッピングから誕生した最初の治療法の1つであり、全身性エリテマトーデスに対する50年ぶりの新薬である。ベンリスタを発見した研究者らは、機能は不明であるがその特性から全身性エリテマトーデスと関連することが示唆される遺伝子を見つけるために、ヒトDNAのライブラリを徹底的に探った。これは、遺伝子の役割を理解しない限り新薬発見に遺伝子を使うことはできないとする、従来の常識を無視した手法である[6]。

図1　乳がんに関する理解は深まりつつある



出典： PwC

図2　世界市場は2020年までに1.6兆米ドル近くになる可能性がある



出典： Business Monitor International

注：（1）売上高は全て米ドルで表し、為替レートは一定とする。（2）成長市場は規模の大きい市場から順に、中国、ブラジル、ロシア、インド、メキシコ、トルコ、ポーランド、ベネズエラ、アルゼンチン、インドネシア、南アフリカ、タイ、ルーマニア、エジプト、ウクライナ、パキスタン、ベトナムを含む。（3）欧州はフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国である。

人体について学ぶべきことはまだ多くあるとしても、ここ数年間に医学研究はめざましい前進を遂げ、しかもこの先さらに素晴らしいことが待ち受けている。

大幅な進歩を遂げた分野はゲノム科学にとどまらない。幹細胞治療法の一部は既に市場に出ており、カナダの規制当局は最近、市販向けに製造された最初の幹細胞治療薬を承認した。Osiris Therapeuticsが開発したProchymalは、健康な成人ドナーの骨髄から得られた間葉系幹細胞を使用した急性移植片対宿主病の治療薬である[7]。

エピジェネティクスなどの学問分野により、DNAに直接コード化されていないが遺伝される生物学的要素による影響も次第に明らかになってきている。そして、ネットワーク医学などの概念により、一見独立しているかに見える「病理表現型」の分子レベルでの関係を理解する手段が開発されつつある（**右記「人体の配線を解明する」を参照**）[8]。

このように、まだ人体について学ぶべきことはまだ多くあるとしても、ここ数年間に医学研究はめざましい前進を遂げ、しかもこの先さらに素晴らしいことが待ち受けている。過去10年間に行ってきた資金と頭脳の投資が、2020年までには大きな収益を生み出し始めるはずである。

人体の配線を解明する

ほとんどの疾患は、単一の遺伝子異常により起きるのではなく、人体の細胞内の分子成分がうまく相互作用できなくなることにより起きる。この細胞内ネットワークは非常に複雑である。10万種類以上の異なる成分が関与し、それには約2万5,000種類のタンパク質コード化遺伝子、1,000種類の代謝産物、さらには、数はいまだ分かっていないが多くの異なるタンパク質と機能性RNA分子が含まれており、その全てが相互に依存しながら機能している。

ネットワーク医学では、故障が特定の疾患につながるような細胞についての「配線図」を作成することをめざしている。車が故障しても整備工が修理できるように自動車メーカーが電気系統の配線図を作成するのと同じである。医薬品業界はいずれ、そうした配線図の助けを借り、症状から独立した疾患の根本原因を「修理」できる治療法を開発しようとしている。

医薬品の需要拡大

それだけではない。世界医薬品市場は安定した伸びを示し、2011年の売上高は1.08兆米ドルに達した。これは前年同期比で7.8％の上昇である。成熟経済圏は不振をきわめたが、成長経済圏の状況は全く異なる。BRIC諸国（ブラジル、中国、インド、ロシア）の売上高は22.6％上昇し、それら以外の新興国13カ国（「ファーストフォロワー」と呼ばれる国々）の売上高は7.2％上昇した[9]。

このパターンが続くならば、医薬品市場は2020年までに1.6兆米ドルに近づく可能性がある（**図2**）[10]。実際は、それを上回ることさえ考えられる。世界人口が増加し、高齢化が進み、運動不足になるにつれ、医薬品に対する需要は劇的に拡大している。2010年には69億人だった推定世界人口は、2020年までに76億人を超えるとみられる[11]。そして、現在の傾向がある程度の方向性を示しているとすれば、世界人口の多くが健康上の問題を抱えることとなる。

人口の30％以上が運動不足となり[12]、20％以上が体重過多もしくは肥満になるであろう[13]。そして、13％以上が60歳以上である[14]。これらの全要因が、心臓病、糖尿病、がんのリスク上昇につながる。超高齢に達する人の数も増え、65歳を超えると、痴呆症の有病率が5年ごとに倍増する[15]。このため、世界保健機関は2020年までに非感染症による死亡者数が2010年と比較して15％上昇し、年間4,400万例に達すると予測している[16]。

世界における感染症の発病率も上昇している。その原因の1つは、一部の疾患が薬物抗体を獲得したことである。しかし、この数十年間に、HIVやMRSAなどの新たな病原体も現れた。そして、百日咳などの昔ながらの疫病も再び登場している。現に、米国内では、1970年代初期以来最大の百日咳の症例数を記録している[17]。

一方、成長経済圏の多くの地域で、ヘルスケアへのアクセスが改善されている。ブラジルは農村部に移動クリニックを導入している[18]。中国は2012年末までに人口の90％以上に医療保険制度を普及させることを目標とした1,250億米ドル規模の計画を進めている。メキシコは国民皆保険制度を推進するための8カ年計画を完了した[19]。また、インドでは、まだ多くの課題が残るとはいえ、国家農村保健計画を開始してから6年半で、かなりの進歩を遂げている[20]。

一言でいえば今日の地球上には、かつてなく多くの人間が住み、そしてかつてなく多くの患者や高齢者が存在するのである。そして、かつてなく多くの人が、無理なく支払える料金で医療を受けられるようになった。2020年までにはヘルスケアへのアクセスは、至るところで基本的人権と捉えられるなるであろう。

貿易自由化

従来の自由貿易の障壁の多くが取り除かれたことで、世界貿易には前例のない成長期が訪れた。2001年から2011年の間に、製品輸出総額（サービスを除く）は現在の米ドル価値で6.2兆米ドルから18.2兆米ドルに急増した[21]。

その結果、ある面では医薬品業界は、かつてないほど好調であるといえる。驚くべき新薬を開発するためのツールが登場し、製品に対する需要は急増し、貿易はますます容易になろうとしているからである。

悪しき時代

一方、医薬品業界はいくつかの大きな壁に直面しているのもまた事実である。イノベーションが減少し、規制はますます厄介なものとなり、医療費が至るところで上昇するにつれ、市場の状態は厳しさを増している。

低いR&D生産性

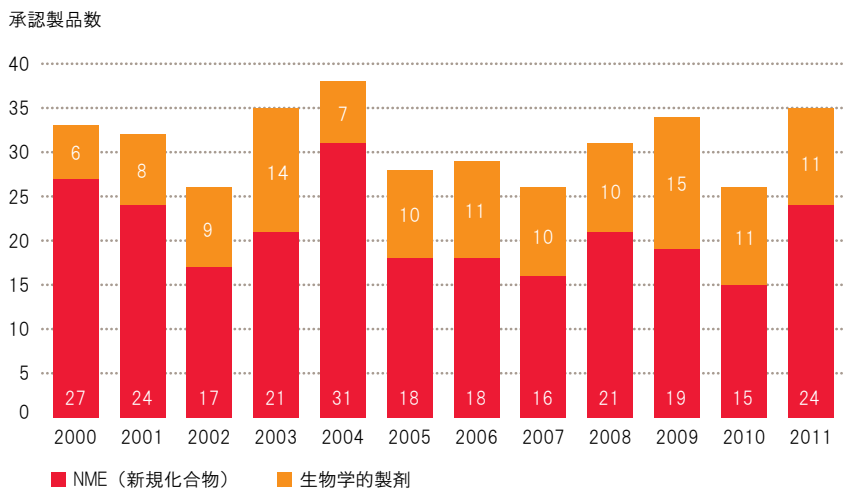
たとえば、業界のR&D生産性という頭の痛い問題がある。新薬上市件数は2011年には上向きに転じたものの、ここ10年間、医薬品業界の年間上市件数は、ほぼ横ばい状態である（**図3**）。

しかも、新薬開発はますます高くつく事業になりつつある。ただし、正確にどの程度高くつくかについては、し烈な議論が続いている。2006年、タフツ大学の医薬開発研究センターは1化合物あたりの平均開発コストを12億4,000万米ドル～13億2,000万米ドルと推定した[22]。以降、さまざまな論者がその数字に異を唱え、実際のコストは7,500万米ドルから40億米ドルの間ではないかと主張したが、ほとんどの人たちは、この範囲のうち高いレンジの数字が正しいと主張していた[23]。

規制の厳格化

同時に、規制環境がますます厳しいものとなってきている。欧州医薬品庁（EMA）は最近新たに、有害事象を管理するための3本柱のアプローチを導入した[24]。また、米国食品医薬品局（FDA）は米国市場の全ての医薬品の安全性を監督するために、センチネルサーベランス（定点観測調査）と呼ばれる積極的サーベイランスシステムを構築中である[25]。

図3　医薬品業界のR&D生産性は10年間にわたり横ばい状態



出典： EvaluatePharma, ‘World Preview 2018’ (June 2012)

市場は格段に厳しさを増し、規制の厳格化、厳しい物価統制、政府による取り締まりの強化、これら全ての傾向が、今後も拡大する。

世界中の規制当局の間で連携が密になっているため、ある地域で承認を拒否された製品は、ほかに地域でも拒否される可能性がより大きくなっている。たとえば2010年後半、EMAが糖尿病薬Avandiaを市場から回収し、FDAは使用に対して厳しい制約を設けたが、両機関は決定を下す前に情報交換を行っていた[26]。

困難な市場の状態

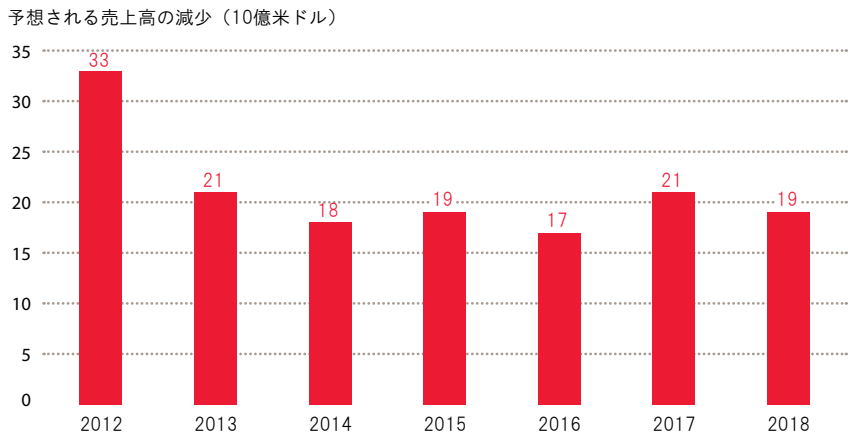
マーケティングと販売の現場では、状況はさらに厳しい。いわゆる「パテントクリフ」（特許切れ）が大きな要因の1つである。2012年から2018年の間に、ジェネリック医薬品による侵食で、医薬品業界の収益の約1,480億米ドルが削り取られる**（図4）**。もう1つの要因は厳しい物価統制である。「ファーマ2020：グローバルタックスの将来課題」で指摘したように、成熟経済圏のほとんどが、既に直接的および間接的な物価統制を行っている[27]。しかし、状況は成長経済圏でも、さらに困難になりつつある。

いくつか例を挙げると、ロシアは2010年4月に、輸入医薬品のマークアップを制限し始めた[28]。インドは2011年11月に、400種類の必須製品の価格統制計画を発表した[29]。またトルコでは、社会保障制度を通じて払い戻される治療に対する値下げ率を引き上げた[30]。

また、多数の政府が疑わしい宣伝行為の取り締まりを強化している。とりわけ米当局では、これを積極的に進めている。2000年から2012年半ばまでの間に、業界は226件の違反の罰金として300億米ドル以上を支払った。これには、認可されていない製品のマーケティングと、メディケイドなどの税金でまかなわれる医療保険制度の過剰請求が含まれ、罰金の総額は上昇し続けている**（図5）**[31]。

だが、これは米国に限った事態ではない。24カ国が製薬会社に対し、法規または行動規範の導入を通じ、顧客でもある医療従事者とのあらゆるやり取りの開示を義務づけている[32]。また、トップ企業の米国証券取引委員会への申告に関する最近の分析によれば、8社が海外市場で腐敗行為に対して告発を受けている[33]。

図4　パテント・クリフで大手製薬会社の利益に打撃



出典：EvaluatePharma, ‘World Preview 2018’（June 2012）
注：医薬品およびバイオテクノロジー企業トップ500社に関して予想される減少。

成長経済圏の政府が医療への公共投資を拡大し、規制当局がますます先を見越した対策を講じ、患者からの要求が増すにつれ、医薬品業界に向けられる監視の目はますます厳しさを増す。臨床試験の実施方法、支払者および提供者との提携関係、入札・契約戦略、価格設定に関する合意、デジタルマーケティング、患者の安全性に対する取り組み、それら全てが一層の注目を集める。

上昇する医療費

しかし、これらの問題は確かに深刻であるが、それよりもさらに高いハードルが医薬品業界の前に立ちはだかっているという説もある。それは上昇する医療費である。各国の国内総生産（GDP）に対する医療費の比率は、あらゆる所得層において上昇し、上昇率が最も高いのが、この業界が過去に最大の利益を上げてきた成熟市場なのである（**図6**）

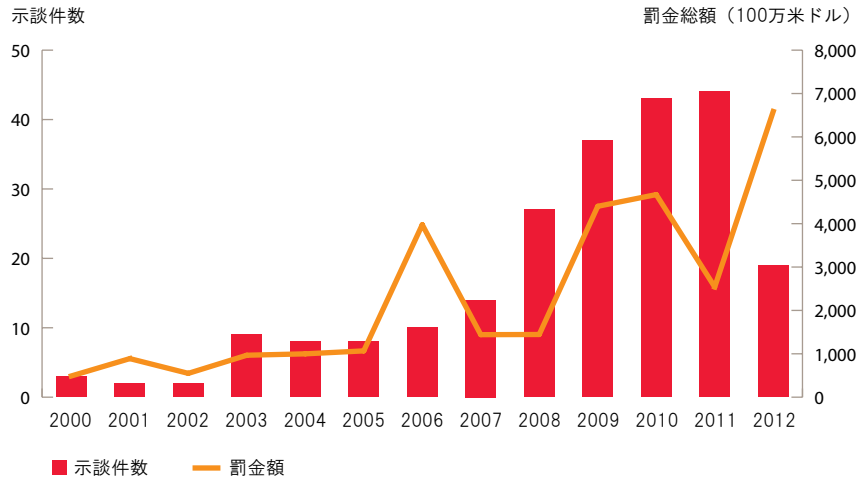
この傾向は長続きできるものではないが、それを逆転させる唯一の方法は、ヘルスケアそのものに対する業界の概念を転換することである。病気の治療に集中するのではなく、治癒、あるいはそれをさらに進め、予防に重点を置く必要がある。この移行を作り出す上で、医薬品業界は決定的に重要な役割を果たす。

2つの中心的問題

それでは、医薬品業界は今どのような立ち位置にあるのか。取り組んでいる多くの問題を考慮すると、業界は驚くほど打たれ強いことを証明したといえる。しかし、業界は基本的に、2つの包括的な問題に直面している。明日の課題は、現在不治の病を、予防または治癒することのできる新薬を開発することである。そして、明日への到達こそが今日の課題である。

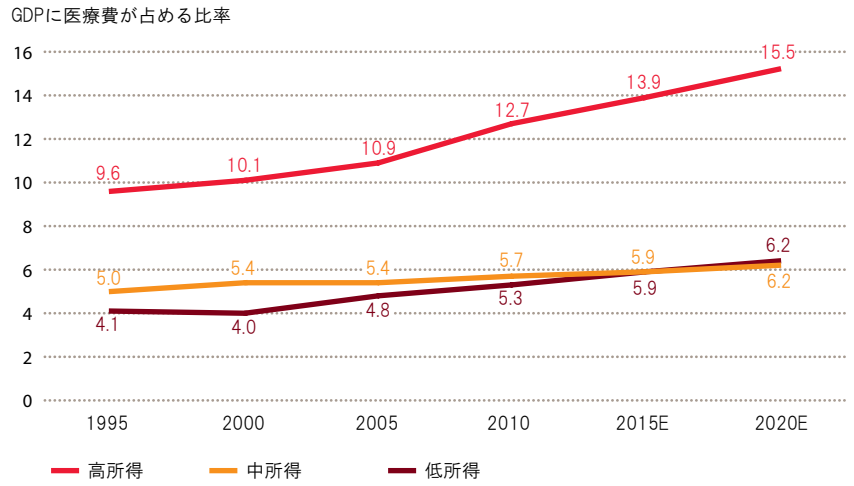
会社が2020年にたどり着き、次の10年がもたらすチャンスを活かす準備を整えられるよう、トップレベルの役員たちが講じられる対策は、幸運にもたくさんある。ただし、これらの対策の中には、きわめて困難な決断を必要とするものがある。

図5　米国で製薬会社が支払う罰金の金額は膨らみ、頻度も高まっている



出典：Public Citizen
注：2012年については2012年7月18日までの期間の数値。

図6　国の貧富の差によらず、GDPに医療費が占める比率は上昇している



出典：世界銀行およびPwCの分析

成熟市場：化合物から最大限の利益を

「物には売れる分だけの価値がある」

プブリリウス・シルス（Publilius Syrus）

成熟市場内には大きな差があり、ここ数年間に、その差がさらに拡大してきた。本章では、カナダ、フランス、ドイツ、日本、英国、米国の医薬品業界の見通しと、これらの市場で収益を最大にするために必要な決断に焦点を絞る。また、ギリシャ、アイルランド、イタリア、ポルトガル、スペイン（GIIPS経済圏）の状況にも触れるが、それらの国々ではいかに売上高を増やすかよりもむしろ、倫理上とビジネス上の責任という対立する要素の間でいかに調整を図るかが問題である。

カナダ、フランス、ドイツ、日本、英国、米国を合計すると、業界の総収益の59％を占める（**図1**）。しかし、ある重要な理由により、これらの国での成功はますます難しくなっている。これら全ての国が、新薬に対して資金を提供する前提条件として、アウトカムの改善を要求しているのである。この変化により、2020年までに新たな規制要件が加わるものと予想される。

壊滅的な重荷

医療保険支払者側の方針が厳格化する1つの理由は、財務上のプレッシャーである。成熟市場はこの5年間に大混乱を経験し、最も強い経済圏では財政刺激策がかすかな回復をもたらしたものの、GIIPS諸国ではいまだに予断を許さない状況が続いている（**16ページの「ファーマゲドン？」を参照**）。

これらの経済的な苦難に、人口統計学と疫学上の壊滅的な要因が重なり、事態はさらに悪化した。米国人の4分の3以上が体重過多もしくは肥満である。肥満は日本を除くほかの成熟市場でも大問題であるが、日本にはまた別の問題がある。2020年までに人口の34％が60歳以上になるのである（**48ページの主要各国指標を参照**）。年齢と肥満はどちらも病気の増加と関連し、その証拠に、糖尿病などの疾患の有病率が上昇した[34]。米国は特に深刻な影響を受けた。成人の約11.3％（65歳以上では26.9％に上昇）が糖尿病である。さらに35％（65歳以上では50％に上昇）が糖尿病前症である[35]。実際のところ、医療費10米ドルにつき1米ドルを今や糖尿病が占めるようになった[36]。しかし、これは米国に限ったことではない。糖尿病の有病率は欧州でも徐々に上昇してきた[37]。

消費者パワーが問題をさらに深刻にしている。成熟経済圏の患者の期待は、かつてないほどに高い。過去の世代が普通に我慢していた症状に対しても、今の患者たちは薬を求め

る。自分に効く薬を求める。そして、インターネットにアクセスするだけで、使える薬を探すことができ、それどころか、自分の意見を広めることさえできるのである。最近実施されたある調査では、米国の成人の16％が、自分が受けている治療に関する感想をソーシャルメディアサイトに投稿すると回答した[38]。

財政、人口統計、社会面でのこれらのプレッシャーが、医療費を劇的に押し上げている。したがって、成熟国の医療保険支払者と医療サービス提供者が、請求金額を下げるのに躍起となっている理由は容易に理解できる。彼らのリソースには限界があるからだ。そして、彼らが特に力を入れるのが、医療費の70％を占めると推定される高血圧／肥満／ノンコンプライアンス／糖尿病／喘息の患者（英語の頭文字を取ってHONDA*といわれる）への対応である[39]。

*Hypertensive, Obese, Non-compliant,Diabetic, Asthmatics

無理なく支払える医療とその影響

最近の米国における医療改革を考えてみよう。医療負担適正化法（いわゆる医療保険改革法）では、さらに3,000万人の国民を保険という網ですくい上げ、ヘルスケアへのアクセスを改善することをねらいとする[40]。また、そのほかに目的の中でも特に、医薬品の自己負担額を軽減し、患者のコンプライアンスを改善することも狙いとしている。

この法律には、こうした変化による経費の負担増を相殺するようなさまざまな規定があり、その一部は製薬会社が負担することになる。これらの規定により、今後10年間に、ブランド薬剤による業界の収益が1,120億米ドル減少すると推定される（バイオシミラー承認パスウェイを導入した場合の影響を除く）。保険適用範囲の拡大による多少の売上増を想定しても、正味の損失額は約970億米ドルに上る[41]。

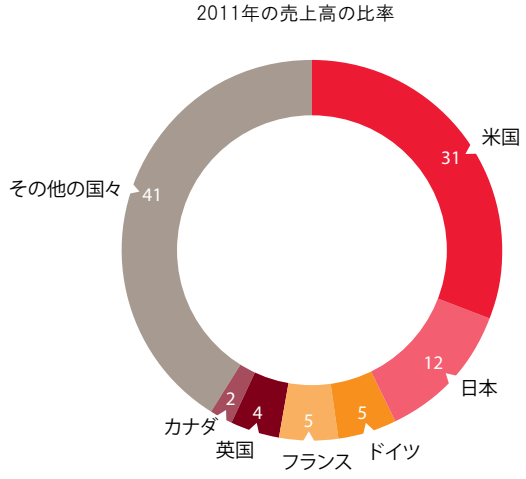
しかし、新法はそれをはるかに超える規模の影響を与える。おそらく中でも最大の影響は、価値に基づく購入であろう。2013年から、ごくありふれた病気のメディケア患者を治療する全ての病院に対し、提供するサービスの量ではなく、ケアの質に基づく支払いが行われる。今後2、3年間に、同じコンセプトがほかに医療サービス提供者にも拡大される。

また、新法は医療従事者に対し、より良い、より調整の取れたケアを提供し、病気を予防し、不必要な入院を減らすために、責任あるケア組織（Accountable Care Organisations、以下ACO）を結成することを奨励している。より優れたサービスを提供しコストを削減すれば、節約した資金の一部を手元に残せる。このインセンティブは相当の関心を集めている。これまでに65件のACOが設立され、今後12カ月間に、その数は倍増すると予想される[42]。

これらの変更による必然的結果として、薬はこれまでよりもはるかに厳しい監視の目にさらされる。医療サービス提供者が創出する価値に対して支払いを受けるようになれば、自分たちが処方する治療法に対しても同じ基準を適用するようになる。現に、それは既に始まっている。最近の調査では、調査対象とした米国医療保険会社の5分の4が、新薬を償還医薬品集に掲載する条件として、コスト削減または明確な臨床的有用性を示すエビデンスを要求している。それに加えて16％の保険会社は、既に製薬会社とアウトカムに基づく契約を結び、33％が今後3年以内に契約を結ぶと回答した[43]。

このように、医療保険改革法は医薬品業界に莫大な影響を与える。歴史的に見て、製薬会社は製品を自ら設定した単位価格で販売し、大量販売値引きを行ってきた。しかし、単位価格設定から価値に基づく購入への移行により、メーカーがどう考えるかではなく顧客がどう考えるのかが最も重要になるのである。新製品の価格は、買う側が製品に対して認めた価値により決まる。このため、製薬会社と医療提供側との関係は契約にサインした時点では終わらない。それは患者の治療が継続される限り続くのである。

図1　処方医薬品による収益の5分の3が6カ国の市場から発生する



出典： Business Monitor International

EU、カナダ、日本での困難な交渉

「ファーマ2020：ビジョン」で予想したように、ほかに成熟経済圏も医療制度改革を進めてきた。そして、米国と同様に、それらの経済圏も、これまでよりもはるかに厳しい姿勢をとっている。

2010年、ドイツ連邦議会はAMNOGという医療関連法を承認し、それに従い、全ての新薬を上市後12カ月以内に対照薬と比べて個別に評価し、それがもたらす改善度に見合った価格を設定することを義務づけた[44]。英国も2014年に、全新薬に対し価値に基づく価格設定の義務づけを導入する[45]。これらの制度はどちらもそれまでの慣行からの大きな変化を意味する。過去には、EUにおける医薬品の経済的評価は価格を設定するためではなく、償還を行うかどうかを決定するために使われてきた。

一方、カナダの医療制度調査では全国的な薬品価格交渉組織を設立し、購買力に差がある州の間での不公平を減らすという方式を研究中である。また、医薬品のリアルタイム評価の実施可能性も検討中である[46]。

日本はそれらとは別の取り組みとして、売上高が予想を大幅に上回った医薬品の薬価改定制度の拡大などの方策を検討中である[47]。また、2012年4月には、1.26％（総医療支出を基準とする）の薬価引き下げも実施した[48]。そして、厚生労働省は医療技術評価の導入も検討中である[49]。

さらなる変化が進行している。数カ国が、特定疾患の治療に対して、定額かつ全部込みの入院費を設定し、緊急再入院に対してペナルティを科している。そして、医療保険支払者の多くは、ケアの提供場所を病院から医師の診療室や患者の自宅に移すことによって、コストを削減する機会を模索している。

中でも特に、成熟経済圏はジェネリック医薬品の処方を奨励し、何年も前からそれを実施している国もある。実際2009年にフランスの社会医療保険制度では、医師に対して合理的な処方に関する個別のガイダンスまで提供している[50]。そのようなイニシアティブは処方パターンに著しい影響を与えた。成熟市場におけるジェネリック医薬品支出は、今後5年間で350億米ドル～400億米ドルの増加が見込まれ、増加分の60％は既存ジェネリック医薬品の使用増加によるものと見込まれる[51]。

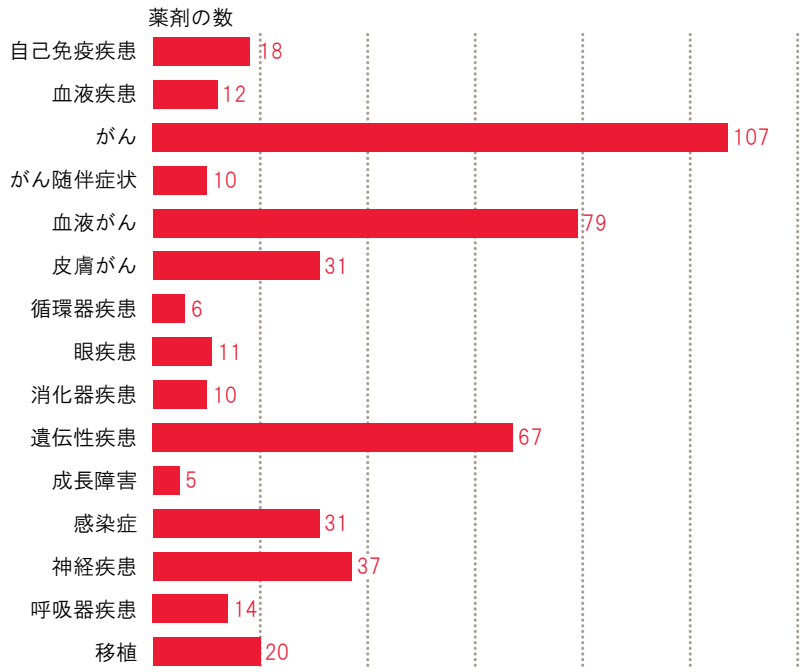
このように、成熟市場の医療保険支払者が発するメッセージは、声が大きく明快である。既に市販されているものよりも臨床的にも経済的にも優れた新薬、すなわち死亡率や罹病率を引き下げケアパスウェイの効率性を改善し、あるいは患者の総支出を減らすような薬を提供してほしい。そして、そうした主張を裏付ける実臨床での確かなデータを示してほしいというのである。

生物学的製剤に賭ける医薬品業界

では、医薬品業界はこれまで何をしてきたのか。業界は、がんと希少疾患の生物学的製剤に集中してきた。現在、臨床試験を実施中の7,891種類の化合物のうち30％近くががんと自己免疫系疾患を対象としている[52]。希少疾患向けの約460種類の薬剤についても臨床試験を実施中であるがただし、これら2分野の間にはある程度の重複があるかもしれない（**図2**）[53]。

それらの治療法のほとんどが、化学的な化合物よりもかなり高価である。たとえば英国では、生物学的製剤の1患者1年あたりの平均価格が約9,500ポンド（14,750米ドル）であるのに対し、従来型療法では450ポンド（700米ドル）である[54]。価格は米国ではさらに高く希少疾患用の一部の製品では、数十万ドルに上る。

図2　比較的列数の少ない疾患に対し460余りの薬剤が開発パイプライン上に存在する



出典： PhRMA

価値のジレンマ

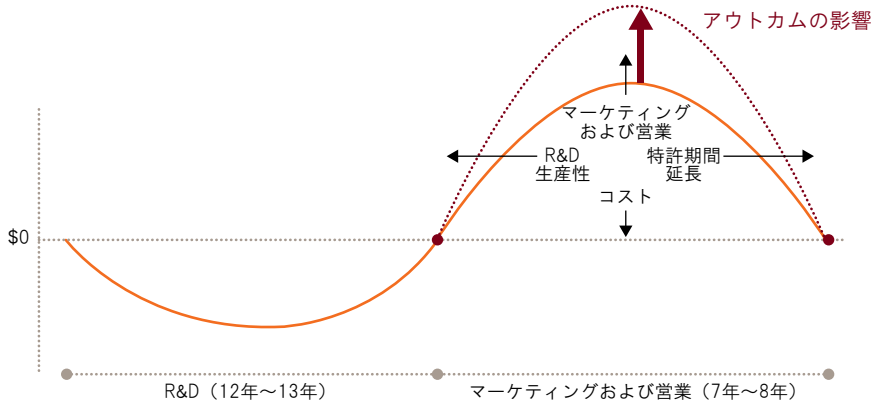
一言で言うならば、成熟市場は経済的、人口統計学的、構造的に、次第に変化してきたが、医薬品業界がその変化に追いついていないのである。業界はいまだに昔ながらの「もっと買え、もっと支払え」という考え方をしているが、成熟市場では資金が枯渇しつつあり、業界がこれまで開発してきた医薬品の中には、ひょっとするとこれ以上ほとんど価値を提供しないものもあるかもしれない。

それとは対照的に、医療保険支払者が望んでいるのは、より高い価値を同じ価格で、あるいは価値が同じであればより低価格で、ということである。そして、支払者側には、待機戦術を採用できるだけの余裕がある。いずれにしても、ますます多くの薬剤が特許切れになるのだから、支払者はすぐに同じ薬を今よりも安い価格で買えるようになるのである。

このように、業界が現在の状態に至ったのは、医薬品業界自体のせいでもある。2020年まで生き延びたい会社は、価格を上げずにより高い価値を提供するか、または、高い価格を請求できるよう医療保険制度の別の部分からコストを削るか、そのどちらかを選択しなければならない。

さらに、パイプライン上にある医薬品の多くは、市場の圧力がこれほど強くなる前に開発が始まったため医療保険支払者の期待を満たせない製品があるかもしれない。新薬の開発には10年以上かかるが、クリニカルパスの変更には半年しかかからない。そこで、多数の企業がポートフォリオを急に縮小するという事態が考えられる。

図3　アウトカムデータという医薬品業界にとっての新たな推進力



出典： PwC

アウトカムという推進力

ほかにも影響がある。これまで医薬品業界には「収益」のてこ入れに役立つ4つの要素があった。それはR&D生産性、コスト削減、マーケティング、市場独占期間の延長である。ほとんどの企業は主にマーケティングに頼っていたが、医療保険支払者と医療提供者があまりに綿密にアウトカムを調べるようになったため、これらの要素の効力は低下した。どれほど多くのＭＲを投入しようと、どれほど試供品をばらまこうと、新薬が競合他社の製品よりも高い価値を提供しなければ、成熟市場の医療保険支払者には選択してもらえない。

とはいえ、この業界にはアウトカムデータという形の新たな推進力がある。「認知度を高める」代わりに、死亡率や罹病率の低下や総医療支出の節約という実臨床のエビデンスを使い、製品の価値を実証できるのである（**図3**）。

しかし、「アウトカムという推進力」を使うには、大がかりな変更が必要であり、研究開発、医療経済学、マーケティング・販売という3つの機能が、特に深い部分で影響を受ける。たとえば、研究開発機能では、パイプライン中のどの薬剤の開発を進めるかという決断を下すにあたり、売れ行きに関する可能性よりも、顧客にとっての価値の創出に焦点を絞る必要がある。また、実臨床のアウトカムデータを使い価値があるとする根拠を提示しなければならない。

同様に、医療経済学機能では、予算編成と予測のために単位価格と販売量を使う代わりに、アウトカムに基づくモデリングを使い、その会社が採用したアプローチを投資家が理解できるようにしなければならない。また、臨時出費とリベートの入り組んだネットワークを管理できるシステムも導入する必要がある。

マーケティング・販売機能には、さらに大きな調整が必要になる。高度な分析を行う能力を独自に備えた医療保険支払者と交渉するには、綿密な科学データや複雑な経済学の勉強に取り組み、そのためのスキルを身につけなければならない。

化合物から最大限の利益を

では、より具体的に、「化合物から最大限の利益」を得るために、製薬会社に何ができるのか。顧客にとっての価値創出については、4つの方法が考えられる。それは医療保険制度の「穴」をふさぐこと、薬剤の有効性を示す実臨床でのエビデンスの収集、患者がどう感じているかという評価、専門医治療薬のためのコンパニオン診断薬の開発である。

医療保険制度の穴をふさぐ

医療保険支払者は臨床面と経済面でのより良いアウトカムを求めており、そのために必要になるのが、ケアパスウェイを分析し、既存の治療のアウトカムが損なわれている箇所を特定することである。PwCの調査では、医薬品と処置の過剰使用または誤用により米国だけでも年間約2,100億米ドルが無駄に使われている。さらに、生活習慣を変えることで対応可能な病態に対する医療に年間3,030億米ドル～4,930億米ドルが使われている[55]。

最初の作業は、ある疾患のパスウェイにおける種々の段階、すなわち患者にリスクが生じた段階から、疾患が薬剤で制御できなくなる段階までを綿密に表現することである。次の作業は、ケアパスウェイ中で患者の行動により、または医療保険制度の欠陥により、価値が失われる箇所を見つけることである。これらの穴の多くがケアパスウェイ中の移行箇所で発生し、そこで不必要な重複や無駄が生じる。

製薬会社は、いったんこの穴をつきとめればそれをふさぐのに役立つ介入の種類と、それが必要な箇所を特定できる。これには、まだ無症状の段階での疾患のスクリーニング、食生活に関するアドバイスの提供、薬剤投与頻度の削減、服薬をリマインドする合図、そのほか多数の対策が含まれる（**右上「薬の力をさらに強める」を参照**）[56]。

薬の力をさらに強める

医師が、薬剤中に埋め込み摂取が可能なマイクロチップを使い、患者が処方どおりに服薬しているかどうかを確認できるようになる日が来るのも近いだろう。Proteus Digital Healthのチップは、コンプライアンス改善をねらいとする最新技術の1つである。パイプライン上にはそのほかに、事前に指定した時刻に無線操作で薬剤を注入する移植組織や、患者の心電図をスマートフォンに送信するセンサーなどがある。

モバイル医療用アプリケーションも大いに期待できる。たとえば、mHealthアプリケーションストアHapptiqueは、トータルヘルスケアパッケージの一部として医師がアプリケーションを処方できるようにするパイロット計画を開始した。mHealthは少なくとも2つの側面で医療に革命を起こす。それは自分の健康に責任を持つよう患者に促し、包括的かつ連続的な形で重要な健康パラメータを測定する手段を提供する。

リモートモニタリング装置とmHealthによりノンコンプライアンスに関する障壁の一部を解消できる。医療の「ゲーム化」には別の目的がある。遊びの要素を取り入れることにより、健康的な生活習慣を奨励することである。このアプローチで最も有名な例は、おらく任天堂のWii Fitというビデオゲームであろう。現在、一部の病院では、理学療法プログラムにこのゲームを取り入れている。

しかし、ほかにメーカーも同じアイデアを使っている。HopeLabは若いがん患者の間に積極的な姿勢を育てることを意図したビデオゲームを発売した。プレーヤーはさまざまな「武器」を使って悪性細胞をやっつける。20のレベルそれぞれにおいて、異なる治療法と、治療法に従うことの重要性に関する情報を提供する。バイエルも任天堂のゲーム機につないで使える血糖値モニリングシステムを開発した。Didgetは小児糖尿病患者に対し、定期的に自分で検査をするたびに、ご褒美として新しいストーリーとキャラクターを与え、病気の管理方法を教える。

医療用ビデオゲームは医療の世界と遊びの世界を融合させる。さらに高度なバイオモニタリング装置とmHealthアプリケーションにより、この融合はさらに進むであろう。さらに先を見通すと、いずれはバイオセンサーで食事内容や運動量を全て記録できるようになる。バイオセンサーは消費カロリーを追跡記録し、ジムに行くようメッセージを表示し、ダイエットを台無しにするおやつを食べようと、冷蔵庫を開けると警告を発する。

「Owning the disease」で指摘したように、医療技術会社の多くは、既に新たな付加価値創出方法を研究し始めている[57]。製薬会社数社も同様の試みを始めようとしている。たとえば2010年6月にファイザーは英国の薬局での血管健康度チェックのサービスを開始した[58]。同じく、グラクソ・スミスクライン（GSK）が専門技術プロバイダーのMedTrust Onlineと提携して提供するiPhoneアプリケーションでは、米国のがん専門医ががんのタイプ別に臨床試験を検索し、患者に最も近い治験実施施設を自動的に特定するサービスを提供している[59]。

一方、ベーリンガーインゲルハイムは糖尿病患者向けのデジタル健康管理サービスのパイロットを実施中である。パイロットでは、個別化した行動計画と、ワイヤレスモニター機能によるデジタルコーチングを組み合わせ、生活習慣の変更による影響を測定する[60]。価値の流出を食い止め、アウトカムを改善するための機会は、これら以外にもたくさん存在する。

実臨床における、価値のエビデンスを集める

市販されている化合物の最大限の活用については、既に解説した。まだパイプライン上にあるものについてはどうだろう。価値に基づく購入では、医療保険支払者が求める種類の情報を収集することが不可欠である。従来の無作為化対照試験では、そのようなデータを抽出しない。それらの試験は綿密に管理された条件下での新薬の安全性と有効性を評価するよう設計されており、それが実臨床でどの程度うまく機能するかは評価しない。

薬剤の経済的価値の根拠を示すための臨床試験については、第4章で詳しく解説する。特に重要な点として、実臨床でのデータを扱うインフラの構築が必要になる。臨床面と経済面で改善された薬剤の開発に必要な情報の多くが、医薬品業界の壁の外に存在するため、ほとんどのメーカーでは、ほかに組織との協働が必要になる。EMR、電子処方データ、患者コンプライアンスデータなどは、このジグソーパズルの重要なピースである。

業界はデータの信頼性に加え、それが相当難しい作業であることを、医療保険支払者に納得させる必要もある。最近調査した米医療保険会社の中で、製薬会社が提供する経済的データの品質を完全に信用すると回答した会社は5％にとどまり、新薬の比較有効性に関する情報の品質を完全に信用していた会社は7％であった[61]。

信頼を得るために業界にできることがいくつかある。たとえば、自社製品の費用対効果に関する第三者による研究に資金を提供するか、または自社データを第三者に再確認してもらうことができる。また、顧客の管理負担を軽減するために臨床面と経済面での価値を評価するための共通評価方法の導入に同意することもできる。

感想の評価

だが、重要なのは臨床面と経済面のアウトカムにとどまらない。米国で当初、価値に基づく医療サービス購入のために使われた品質評価法の3分の1弱が、患者満足度に基づくものであった[62]。そこで、医療サービス提供者は患者がどう感じるかを考慮に入れる必要がある。

患者経験の評価を行う製薬会社は、まだきわめて少数である。しかし最近、Incyteが骨髄線維症治療薬のJakafiに関して患者から報告されたアウトカムを使用したことは、それがどれほど貴重なツールであるかを示している。FDAはJakafiの承認にあたり、それが決定的な要因になったと述べ、異例な措置として症状緩和に関する情報をパッケージに印刷することを許可した。Incyteの努力は市場でも認められた。Jakafiは当初、4万米ドル～6万米ドルでの販売が見込まれていたが、現在、米国では年間8万4,000米ドルで販売されている[63]。

しかし、治験で患者が報告するアウトカムを得るには、事前にかなりのプランニングが必要であり、最初に新しい測定ツールを開発し、検証しなければならない場合はなおさらである。このため、プロセス中の早い段階に開始することが不可欠になる。また、できる限り多くの情報源から患者の感想を得ることも重要である。この点で、ソーシャルメディアは豊かな情報源になり得る。しかも、その種の意見表明の場は増加の一途をたどる。たとえば米国で、18歳～29歳のインターネットユーザーの89％がソーシャルネットワークサイトを利用しているのに対し、65歳以上の年齢層ではわずか33％である[64]。

オンラインの患者グループやブログは、自分自身の経験についてオープンに語る患者の声を聞く機会を与えてくれる。既に数社が疾患ごとにコミュニティを立ち上げ、そこで集めた見識を販売している。自然言語処理と非構造化データ分析のための新技術により、製薬企業が自社で簡単にデジタル口コミをモニターできるようになった。

とはいえ、患者からきちんと同意を得ること、そして、責任を持ってデータを取り扱うことは必要不可欠である。プライバシーとセキュリティの侵害は、必須の臨床データの紛失などの問題とともに、業界の評判に深刻なダメージを与える。ところが、PwCの調査によれば、米国医療関連企業（製薬会社を含む）の4分の3近くが、収集した目的以外の副次的な目的に医療データを使用しており、盤石な安全策を講じている企業は半数に満たない[65]。

特定の疾患のサブタイプを標的とする薬剤のコンパニオン診断薬を開発することにより、医師はそれらの薬剤の価値を最大限に引き出すことができる。

専門薬のコンパニオン診断薬の開発

開発中の化合物から最大限の利益を得るためのもう1つの方法は、医師がそれらの薬剤の価値を最大限に引き出せるようにするコンパニオン診断薬の開発である。医療保険支払者も認識しているように、1種類の疾患サブタイプを標的とする治療薬を、別の疾患も併せ持つ患者に対して処方することは無意味である。そこで、医療保険支払者は貴重な資金の有効活用に役立つイノベーションがあれば、そちらに資金を振り向けようとしている（**表1**）。

表1　コンパニオン診断薬を伴う分子標的薬は特定の患者集団で高い有効性を示すため、大きな収益を生む

製品名	適応症	米国の患者一人当たりの年間コスト	バイオマーカー	試験利用におけるバイオマーカー陽性率（%）	売上予測（2012年～2018年）
Erbitux	大腸、頭部、頸部がん	8万4,000米ドル	EGFR+ KRAS-wt	37.5	134億2000万米ドル
Herceptin + Perjeta	乳がん	12万4,800米ドル	HER-2+	25	499億6000万米ドル
Tarceva	非小細胞肺がん	5万2,800米ドル	EGFR+	10-15	108億米ドル
Xalkori	非小細胞肺がん	11万5,200米ドル	ALK+	4-7	47億6000万米ドル
Zelboraf	メラノーマ	11万2,800米ドル	BRAF+	13.5	42億5000万米ドル

出典： EvaluatePharma および The Pink Sheet
注：予想売上高はグローバルの累積額。

FDAも専門薬とコンパニオン診断薬の同時開発を歓迎する姿勢を示し、時々、そのような製品には迅速審査というご褒美を与えている。しかし、この「ニンジン」が奏効しなければ、ムチを使うこともある。FDAは2010年に、ターゲットとする患者群を特定するための診断薬使用を伴わないことから、白血病治療薬Omaproを承認しなかった[66]。

NICEは2011年に同じ理由で、メラノーマ治療薬Yervoyの医療保険リスト掲載を拒否した[67]。したがって、ごく小さい患者集団を対象とする高価な治療に関し、診断検査法の開発を怠ると、ビジネスとしての成功の見込みが損なわれる場合がある。それどころか、2020年までには、その種の薬剤全てに対し、承認にはコンパニオン診断薬が義務づけられるとPwCは予想している。

成熟市場の医療保険支払者は、金額に対する価値の増大を求め、得られる価値をこれまでよりもはるかに慎重に評価しようとしている。

どれだけの価値があるか

まとめると、成熟市場の医療保険支払者が発するメッセージは明確である。金額に対する価値の増大を求め、得られる価値をはるかに慎重に評価しようとしており、アウトカムを少しずつしか改善できない薬に対して何千ドルもの金額を支払うつもりはないということである。保険会社の資金には限りがある。

一方、価格設定と償還のプロセスが透明化されるにつれ、医療保険支払者が「価値」という言葉で意味する内容も明確になる。そして、医療費節約に手を貸せる範囲は実に広い。これまで、製薬会社は医療費予算の中で薬剤に使われる約15％に重点を置いていた[68]。ということは、残り85％を対象として、より高額な医療サービスへの支出を減らすことで製薬会社は利益を上げることができるのだ。それに成功すれば、そしてその比率のバランスを変えることに対する社会政治的反対を克服できれば、成熟経済圏での医療支出において製薬会社が占める割合は2020年までに20％にまで上昇する可能性がある。

化合物から最大限の利益を得るには、どの疾患に重点を置くか、どの薬剤の開発を追求するか、どのデータを収集するか、医療制度の穴を埋める最善の方法は何か、を決める重大な決断が必要になる。また、大半の企業では、予算配分と予測のプロセス、請求・支払システム、営業方針の変更も必要になる。

中でも最も重要なことは、常に全体像に留意する必要があるという点である。疾患を予防し、ほかに方法では治癒不能な疾患を治癒し、全体的なコストを削減し、患者ができるだけ長く、できるだけ生産的に生きられるような治療、それこそ成熟市場の政府と医療保険支払者が購入するタイプの薬剤である。

そして、詰まるところ、古代ローマ時代の著述家プブリリウス・シルス（Publilius Syrus）の言葉どおり、「物の価値はいくらで売れるかによって決まる」。したがって、医療保険支払者、医療サービス提供者、患者が価値を認めたものこそが、製薬会社が株主のために創出する価値を決定するのである。

ファーマゲドン？

GIIPS経済圏の財政問題は、既に医薬品業界に重大な影響を与えている。欧州製薬団体連合会（EFPIA）は全5市場における値下げと値引きにより、業界の収益が2010年および2011年に70億ユーロ（88億米ドル）減少したと推定している。ただし、ほかに国々も同様の値引きを要求し、間接費はそれをはるかに上回る[69]。

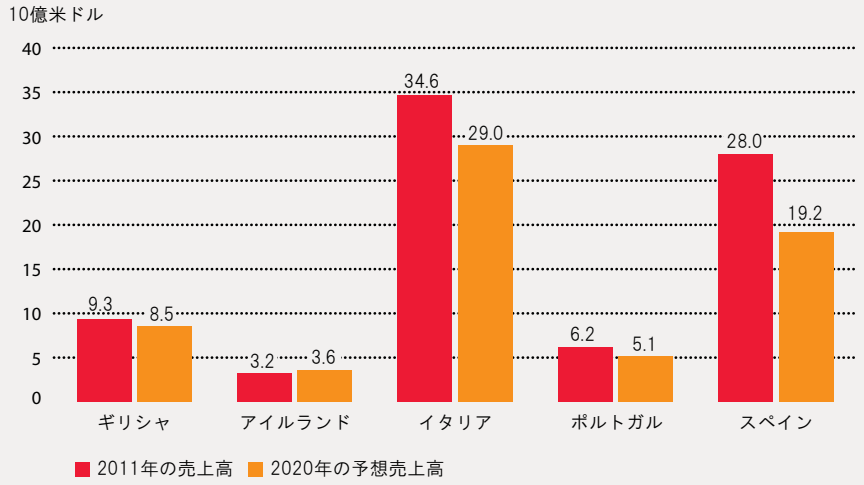
今後数年の見通しも暗い。GIIPS諸国の政府は予算の引き締めを行っており、処方箋薬を含む医療支出が、真っ先にやり玉に挙がっている。各国の有権者、業界支援団体、地方自治体の反対により、そうした動きは緩和されるかもしれない。それでも、GIIPSの5経済圏における医薬品の売上高は2011年の813億米ドルから2020年までに654億米ドルに減少すると予想される（**図1**）。

厳格化する経済統治

EU法規では、保健医療政策の策定と医療制度の編成および資金供給は各国政府の責任で行うことになっているので、保健医療分野でのEUの取り組みは通常、加盟国間の協力促進と医療・安全性基準の設定に限られる。しかし、EU条約と欧州財政協定で定められた厳格な財政規則、およびEUと国際通貨基金（IMF）の救済の受け入れを決定した加盟国に対する厳しい救済条件により、EU経済統治は次第にヘルスケアに対して重要な制約をかけるようになってきた。

たとえばポルトガルは現在、EU/IMF救済パッケージの条件を実行に移そうとしているが、その中で、政府は保健サービスの利用を合理化し、医療に対する公共支出全般を削減するための法律を制定しなければならない。このため、政府は新たな経費節減規定を導入するものと思われる。1つの選択肢は、特許切れの薬の価格を半額にすることである[70]。2013年前半に予定される次の年次薬価レビューでは、さらなる値下げが行われる可能性もある。

図1　2020年までにGIIPSの5カ国中4カ国で医薬品市場は縮小する



出典： Business Monitor International
注：売上高は全て米ドルで表し、為替レートは一定とする。

ギリシャ政府も、2件のEU/IMF覚書に従い、制限的医療保険リストを含むさまざまな医療制度改革に着手した[71]。ほかに経費節減策には、ジェネリック医薬品振興策が含まれる可能性がある。たとえば2012年3月に、イタリア政府はジェネリック代替薬の使用に関する規則を強化した「自由化」法を制定した[72]。そして、2012年7月には、アイルランド保健大臣が、ジェネリック医薬品の自動的代用を許可する法案を提出し、これが議会で可決された場合アイルランドの医療支出が年間500億ユーロ削減される可能性がある[73]。

負債の山

しかし、価格値下げとジェネリック医薬品による侵食だけが業界の心配の種ではない。アイルランドを除く全GIIPS諸国が医薬品に対する支払いを遅らせており、負債額は2011年末までに120億ユーロ～150億ユーロに上った[74]。

問題はギリシャで始まった。ギリシャの病院は過去5年間に約70億ユーロの負債をため込んだ。それらの負債の多くが未払いのままであり、ギリシャ政府は近年、国が年間医療予算を超過した場合、超過支出分の支払い義務は全て業界が負うことを定めた法律を制定した[75]。

この問題はその後、イタリア、ポルトガル、スペインに拡大した。マクロ経済調査グループのPrometeiaは、イタリアの地方保健当局が、2011年に医療費の支払いに平均262日を要し、ポルトガルでの支払遅延日数は375日から453日に増大したと報告している[76]。スペインの医療制度は2012年6月までそれよりもさらに悪い状況であった。6月に政府は自治州における負債増加に対応するために、170億ユーロの予算を配分した[77]。

イタリアとスペインの両政府は、公共医療支出の大部分を管理する地方自治体と対立している。理由の1つは、イタリアでは、地方政府との間で11月中旬に医療協定を締結することを内閣が期待しており、これにより地方への交付金がおそらく減額されることにある[78]。より効率的な医療予算配分を可能にする新たなコスト基準値も設定され、内閣は2012年末までに導入日程を確定する[79]。最近の医療支出レビューにはほかに対策として薬剤と医療機器に対する公共支出を制限し、病院が予算を超過したときに報酬の一部を返金することをサプライヤーに義務づけ、医薬品のさらに大きな値引きを義務づける対策も含まれる[80]。

今後数年の間に、患者の医療費負担分も増大するものと予想される。イタリアとスペインの両国は、医薬品支出の負担を個人支払者に移行することによりコストを削減しようとしている。たとえばスペイン保健省は最近、400種類の薬剤を医療保険リストから外した[81]。そして2012年4月には、年金生活者の医療費の個人一部負担を導入し、労働者の患者一部負担率を引き上げた（引き上げ率は所得水準に従う）[82]。

グレー貿易

GIIPS経済圏の財政難がもたらした最後の変化は、医薬品業界にとり特に重大な意味があった。価格の安い国から高い国への薬品の再輸出の増加である。2009年に、欧州の処方箋薬「グレーマーケット」の規模は年間約52億米ドルであった（工場渡し価格に基づく）[83]。しかし、EFPIAは最近、並行貿易が著しく増加したと報告している[84]。

ほとんどの調査で、最大の利益を得るのは医療保険支払者ではなく、仲介業者であることが示されているにもかかわらず、この行為を阻止しようとする医薬品業界の努力は、たびたび妨害されている。しかし、抵抗がようやく軟化するかもしれない。2012年5月、欧州委員会は医薬品の並行貿易に関する調査を開始した。その調査では、再輸出用に購入した薬品への差別価格の適用という業界の主張の正当性を検討することが報告されている[85]。

綱渡り

そこで、GIIPS経済圏で取引する製薬会社が直面する重要な問題は、患者のニーズとビジネス上の必須事項との間でいかにうまくバランスをとるかということである。それには難しい決断が必要になる。たとえば、より厳しい支払条件を導入するか、供給する製品を制限するか、あるいは、異なる販路を通じて患者に製品を供給することにより、倒産状態の公立病院を通さずに必要な治療を受けられるようにするか、などの決定である。

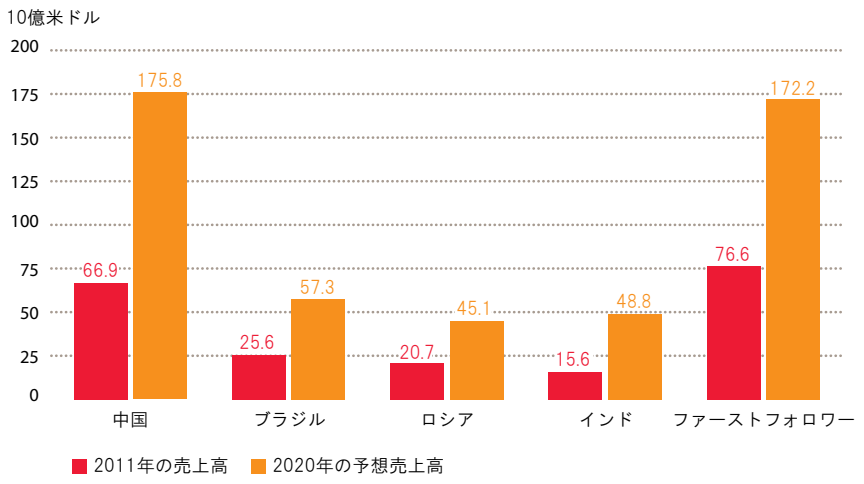
また、相当の不確実性にも対応しなければならない。ユーロ圏危機が進行するにつれ、長引く緊縮財政措置と市場のプレッシャーにより、国民の間に不満がつのり、政治不安が生じる可能性がある。GIIPS諸国とほの国々では、これまでのところ政権が変わっても緊縮措置や構造改革政策の逆転は起きていない。しかし、有権者が長期にわたる緊縮措置に耐え続けるかどうかは不明である。

成長市場：熱いか冷たいか。適正温度の調整は難しい

「氷水の入ったバケツに片足を入れ、熱湯の入ったバケツにもう片方の足を入れれば、平均して、とても快適ということになる」

マーク・トウェイン（Mark Twain）

図1　成長市場で急上昇する医薬品需要



出典： Business Monitor International

注：（1） 売上高は全て米ドルで表し、為替レートは一定とする。（2） ファーストフォロワーは、アルゼンチン、エジプト、インドネシア、メキシコ、パキスタン、ポーランド、ルーマニア、南アフリカ、タイ、トルコ、ウクライナ、ベネズエラ、ベトナムを含む。

熱さと冷たさを同時に感じる

成長市場は沸騰した湯のように熱いが、氷のように冷たくなることもある。一方では、それらの市場は急速に拡大している。購買力平価（PPP）に換算すると、2020年までに、BRIC経済圏だけで世界のGDPの33％を占めるようになる（2009年の25％から上昇）[86]。

他方、成長市場は、地理的な規模、文化の多様性、未整備のインフラ、分断された流通網、規制が弱くかつ効果的に施行されていないこと、などの大きな課題を抱えている。また、平均所得も先進諸国よりかなり低い。

成長市場はビジネス上の大きな可能性を秘めているが、成熟市場に追いつくには、20年もの長い時間を必要とする可能性がある。その間にこれらの国々で商売をすることは、経験の少ない会社にとってはかなりのリスクがある。

バケツの中の片足

医薬品業界の見通しは、この二分状態を反映している。明るい面を見ると、成長市場での薬剤への支出は、ほかにどこよりもはるかに速く増加している。今後の経済的拡大とヘルスケアへのアクセス改善により需要が拡大し、総合すると、2020年までに、支出は4,990億米ドルに達する見込みである（2011年の2,050億米ドルから上昇）**（図1）**。

暗い面を見ると、成長市場への製品供給は非常に難しい。その原因は、それらの市場が本来持つ問題と、それらがあまりに違いすぎることの両方である。それらは政治、地理、宗教、社会、構造という数々の

面で異なる。人がかかる特定の疾患のサブタイプの決定において、民族的な出自、食生活、環境が大きな部分を占めるため、必要とする治療も異なる。そして、新薬に対して支払える能力と支払う意志も異なる。

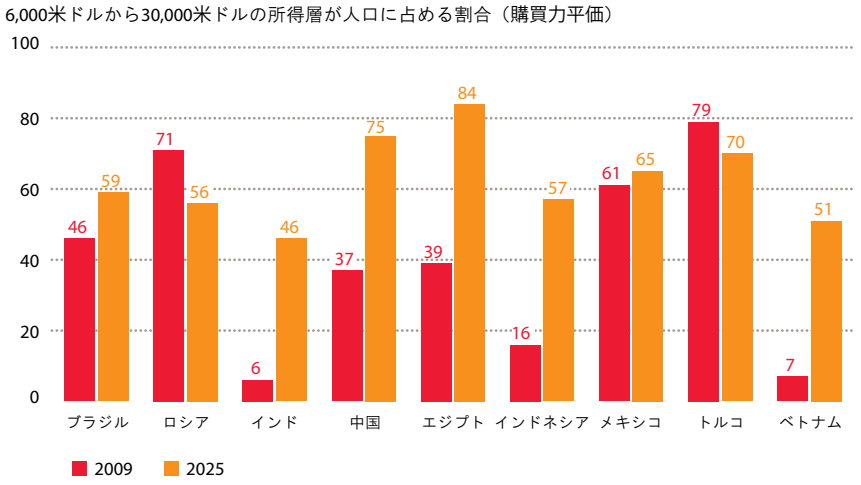
富裕層が集中する部分があり、全体的な経済水準も上昇している。「中流」消費者［年収6,000米ドルから30,000米ドル（PPP）と定義される］の数は、2025年までに17億人から36億人に増えると予測される**（図2）**[87]。

しかし、成長経済圏の患者は通常、成熟経済圏の患者よりも、医療費の自己負担分が多い。そして、成長率が最高のBRIC諸国においてさえ、数千ドルもの価格に設定された生物学的製剤を使用するには、一人当たりの医療支出はあまりにも低すぎる**（表1）**。

実際、富裕層と貧困層の医療ニーズの間で調整をとることは、成長経済圏の政府が直面する最大の課題の1つである。それらの政府は、裕福な市民の間で拡大する高価値薬剤の需要と、低い社会経済層に属する市民の必須医薬品に対するアクセス改善を求める声を、なんとか考慮し、それらの間で調整を図らねばならない。それは微妙な政治的バランスを維持するための曲芸のようなものであり、医薬品業界にとってはおそらく利害が相反する要因になるであろう。

たとえば、ブラジル政府は近年、経済成長の鈍化に関する懸念に対応し、医薬品分野を含むいくつかの業界を対象に、支払い給与税の納付を免除した[88]。しかし、政府はそれと同時に安い輸入品から国内産業を保護するために、100品目の製品に対する関税率を引き上げ、これは医薬品に対しても影響を与える。したがって、ブラジルで事業を展開する製薬会社は、かなり低い人件費から利益を得る一方、高い輸入関税を支払うことになる[89]。

図2　中間層の拡大



出典： Goldman Sachs
注：ロシアとトルコでは、多くの人口がより上の所得層に移動すると予想されるため、中間層の比率が減少している。

表1　成長市場の患者は高価な生物学的製剤を使う経済的余裕がない

	医療費負担率（%）	2010年の一人当たりの支出（米ドル）	純資産10,000米ドル以下の人口（%）
ブラジル	53.0	990	62.1
中国	46.4	221	66.4
インド	70.8	54	92.8
ロシア	37.9	525	75.4

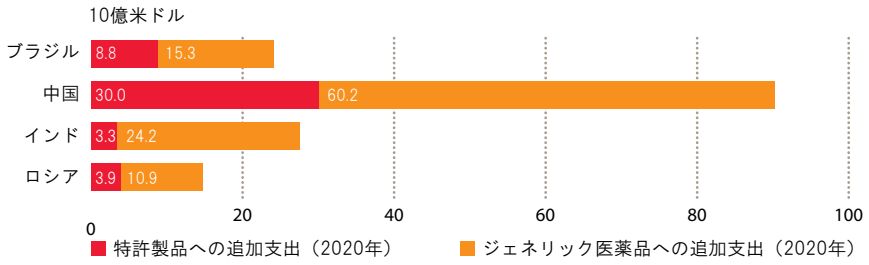
出典： World Bank Indicators and Credit Suisse, Global Wealth Databook (October 2010)

同様に、メキシコのエンリケ・ペニャニエト大統領が財政改革を強行するものと予想され、その中で、食品と医薬品に対する付加価値税に関する免除を含めさまざまな課税免除の見直しが行われる可能性がある[90]。ただし、おそらく大統領はその措置を政治的に歓迎されるものにするために、そこから生じる収益の一部を国の医療保険制度に回すことになるであろう。

一方、一人っ子政策で高齢化が加速した中国では、医療制度改革が中央政府の第12次5カ年計画の柱になった。また、中国政府が最近行った私立病院に関する規制環境改善策には、海外からの投資に対する特定障壁の撤廃が含まれ、医療分野における民間セクターの存在を積極的に強化しようとする政府の意図を示唆している[91]。

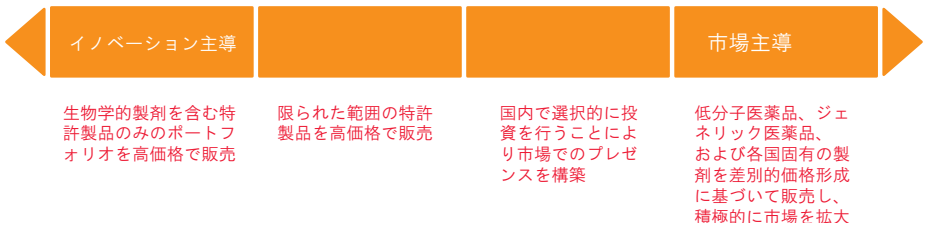
これは医薬品業界を含め、関連業界の外国企業にとって、良い前兆となり得る。ただし、このような変化を地方レベルで導入することは非常に困難である。また、ブラジル同様、成長の鈍化という懸念がある。中国経済の成長鈍化が続けば、中央政府による医療制度改革のうち、大胆かつ多額の資金を要する部分は頓挫する可能性がある。

図3　成長市場で医薬品の売上げを伸ばすために特許薬が果たす役割は小さい



出典： Business Monitor International
注：売上高は全て米ドルで表し、為替レートは一定とする。

図4　大手製薬会社は成長市場で4つの戦略を使っている



出典： PwC

つまり、今のところ新興国にはイノベーションに報酬を与えられるだけの資金力がない。さらに、近い将来の経済的不確実性という要因により、おそらく医療制度改革は一様には進まないものと予想される。このため、今後10年間に予想される医薬品売上高の予想増加分の大部分は、特許製品ではなく、ジェネリック医薬品から生じる（**図3**）。

そしてそれは、医薬品業界が、先進国で利益を上げるために普通用いる方法に頼れないことを意味する。そこで、全く異なる戦略が必要になるが、市場がこれほど多様なため、各市場に合わせた複数の異なる戦略を採用する必要がある。

バリューかボリュームか

それでは、業界大手はこれまでにどのような対応を取ってきたのだろうか。PwCの分析によれば、4つの方針のいずれかを採用している（**図4**）。このスペクトルのイノベーション主導側に位置する企業は、量よりも質を重視する。ロシュが好例である。2010年、ロシュ医薬品事業部の元最高業務執行責任者 Pascal Soriotは、同社が「イノベーティブな高額製品」を成長市場に販売することを目標とし、「いずれ中国などの国が［中略］先進国との差を縮めるにつれ」、その戦略は実を結ぶと語っている[92]。

スペクトラムの反対側に位置する企業は大量販売と市場シェアを重視し、その主な手段として、プライマリケアのための製品を販売し、差別価格を使い、主要テリトリーで買収によりジェネリック医薬品部門を設けている。このアプローチの好例はGSKである。最高経営責任者のSir Andrew Wittyは、成長経済圏に関して「極端に強気な姿勢」を自認する[93]。

ほかに業界大手は、これら両極端の中間のどこかに存在する（**図5**）。たとえばイーライリリーは成長市場への進出をかなり選択的に展開し、ブランド薬剤の販売に集中している[94]。それとは対照的に、サノフィは多額の資金を投じ、ジェネリック医薬品部門を構築している[95]。そして、メルク（米国以外ではMSDの名で知られる）はその中間に位置する。同社はインドのジェネリック医薬品メーカーSun Pharmaと提携しているが、既存の治療法の販売のみが目的ではない。2社はブランドジェネリック医薬品のより便利な製剤を開発するためのジョイントベンチャーも設立した[96]。

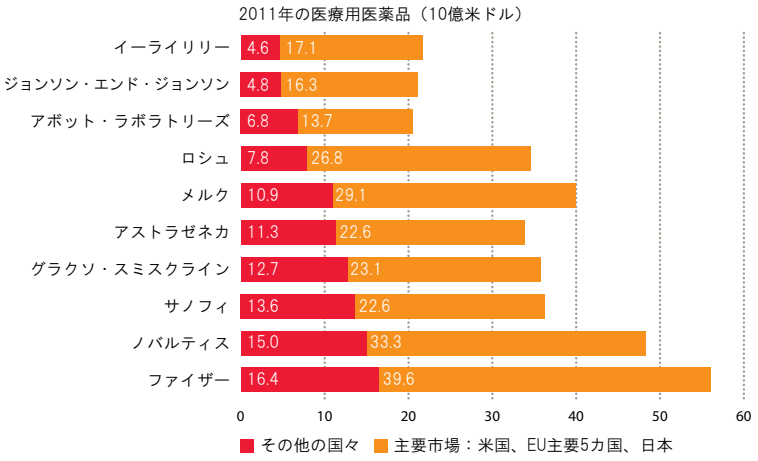
しかし、これらの戦略を全く問題なく進めてきた企業は皆無といえるほどである。たとえば2012年3月、インド政府は国内メーカーに対し、まだ特許が有効なバイエルのがん治療薬Nexavarのジェネリック版の製造と販売を許可した[97]。ノバルティスもGleevecの特許権を認めないインド特許庁と争っている[98]。

これら2例に触発されたものと思われるが、ロシュはどこで販売するかによらず、同一製品は同一価格で販売するという長年の方針を変更した。最近、同社は2013年までに、がん治療薬HerceptinおよびMabTheraの「相当な」廉価版をインドで発売すると発表した[99]。

中国も知的財産法を改正し、国家の非常時または異例な状況下、または「公共の利益のために」、特許薬のジェネリック版を製造を可能とする強制実施権を許可した。業界筋によれば、中国政府はエイズの標準治療薬の一部であるGilead Sciencesのtenofovirを照準に入れているという[100]。

そこで、市場のハイエンドに位置する企業にとっては、特許が引き続き問題になりそうである。ただし量を重視する企業の方もそれなりの問題に直面している。中東の不安定な政治状況、ロシアとトルコでの値下げ、ブラジルでの強力なジェネリック医薬品との競合が、収益に打撃を与えてきた[101]。そして、多国籍企業の中には、ブランドジェネリック医薬品で国内ライバルを蹴落とし成績を上げてきたところもあるが、それはせいぜい短期的な対策にすぎない。有名ブランドだから安心できるという理由でいくらか余分な金額を支払う患者もいるかもしれないが、政府が償還額を削減し国内大手企業を後押しするにつれ、そうした患者の数は減少する。

図5　4社が収益の3分の1を主要市場以外で上げている



出典： Datamonitor
注：EU主要5カ国はフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国。

常識にとらわれない

このように、一般大衆に集中することが、高価な新薬に対してお金を出せる裕福なエリート層に集中することよりも容易であるとは限らない。しかし、こうすることで成長市場で利益を上げることが不可能なわけでもない。反対に、最もイノベーティブな組織から医薬品業界が学べることがたくさんある。次の実例を検討してみよう。

所得ピラミッドの下層部の人々に向けた製品を設計

Ratan Tataは、インドの都市に住む大衆層向けの車の開発を決定したとき、まず次のことを自問した。これまでバイクを普通に利用してきた人たちのために、低価格で、しかもより良い交通手段を製造するにはどうすればよいか。その答えが2,500米ドルのNanoという低価車である。これは燃費の良い4人乗りの車で高くつく余分な機能は付いていない[102]。GEヘルスケアは医療機器に同じアプローチを応用した。特に注目される製品としては、通常は約160万米ドルで販売されるMRIで、余分なものを取り払った2種の製品を、70万米ドルから90万米ドルで発売した[103]。

複雑なサービスの提供にマスマーケットのテクニックを応用

Devi Shetty医師は、ハイボリュームな心臓手術の技術を完璧なレベルにまで高めた。バンガロールのNarayana Hrudayalaya病院では、各々が1種類の外科手技を専門とする42名の外科医が、週に約600例の手術を実施している。Shetty医師の手術1例あたりは約1,500米ドルかかる。それでも、Shetty医師の粗利益は米国の典型的な病院の粗利益よりも高く、質は利益に相応する高さを誇る[104]。

眼科病院チェーンのAravindも、医療の提供に組み立てライン的な手法を取り入れている。同社は年間約35万例の手術を行い、手術室には2台以上の手術台を用意し、医師が回転するだけで1人の患者から次の患者に移れるようにしている[105]。

プールしたリソースを違う目的のために使う

英国のチャリティ団体Colalifeの創設者Simon Berryが途上国に下痢止め薬を配布しようとしたとき、名案を思いついた。援助が届かない場所にもコーラは運ばれる。では、コーラの貨物に医薬品を入れてはどうか。Colalifeはコーラ瓶の列の間に挟めるようなくさび形の容器をデザインし、現在、それはコカ・コーラの流通網に便乗して運ばれている[106]。

同じコンセプトをほかに製品や市場にも利用できる。実際、2020年までに、医薬品業界最大手が、製品に対する需要を刺激するために、成長市場の医療保険者や地域医療の提供者とリソースをプールするようになると予想される。また、流通費を削減するための業界横断的な輸送網にも加わるようになるであろう。

所得ピラミッドの下層部にサービスを提供することで利益を上げる技を身に付けた組織から、医薬品業界が学べることはたくさんある。

古いツールに新しい芸をさせる

1973年に、モトローラの社員が個人の携帯電話から初めて電話をかけた[107]。今日、約42億人が1台以上の携帯電話を持っている[108]。そして、われわれはモトローラが想像すらできなかった用途に携帯電話を使っている（**右記「大衆向けのモバイルケア」を参照**）[109]。

1400万人近くのケニア人が、モバイルバンキングシステムM-Pesaを利用している[110]。バングラデシュ政府は、全国的な公衆衛生キャンペーンの広告にテキストメッセージを使い、妊婦に出産前のアドバイスを与えている。ガーナの医師会は、医師に国家非常事態に関する情報を送信するためにSMSに頼っている。そして、カンボジア保健省はSMSで疾患調査プログラムを実施している[111]。

スマートフォンとビデオストリーミング機能は、ほかに医療サービスにも門戸を開くだろう。2020年までに、患者は離れた場所にいながらにして医師の診察を受け、診察中に症状に関する情報を送ることができるようになるだろう。大都市の病院は対話型の立体画像を装備し、それを使って医療に関する基本的な質問に回答できるようになれば、場合によっては医師と話す必要すらなくなるかもしれない。

可能性はそれらにとどまらない。成長市場ではコンプライアンスが成熟市場よりもさらに低いが、同様の技術が、患者コンプライアンスの改善に使える可能性もある。また、特定の薬剤については、ごく小さい単位で販売し、M-Pesaのようなサービスを介して1日ごと、1週ごとに支払えるようになる。

必要な現実認識

これらは、所得ピラミッドの下層部にサービスを提供することで利益を上げるという課題と取り組んできた組織の実例である。それらの組織は単に新製品や新サービスを開発しただけでなく、新たなビジネスモデルを創造した。とはいえ、医薬品業界がより先駆的になり、先進国以外の地域に住む約80％の消費者への販売に成功しただけで、全ての問題が解決されると思うのは間違いである。成長市場で見事な売上を達成する可能性はあるが、それは成熟市場での価格低下と特許切れを埋めるには不十分である。

そこで、重大なのは、冒険しすぎることなく、あるいは非現実的な期待を持ちすぎることもなく、成長市場でのビジネスチャンスをいかにものにできるか、すなわち、いかにして熱湯と氷の間でのバランスの取るのか、という問題である。それには、どの国に集中するか、どのビジネスモデルを使いか、どの程度の投資を行うか、どのように資金を配分するか、などの重要な決断を行う必要がある。

しかも、そのような決定は迅速に下されなければならない。さもなければ、2020年までにBRIC経済圏の最大手企業が同国のジェネリック医薬品を支配するとPwCは予測する。そして、それらの企業の一部は、自社研究所で開発した革新的な薬剤により、ジェネリック医薬品の枠から抜け出すことも、十分にあり得る。2010年末までに、中国の製薬会社は、米国または欧州の特許を持つ39種類の化合物の臨床試験を実施していた。今後の展開を示す明らかな兆候である[112]。

大衆向けのモバイルケア

多くの新興国では、患者は医師に会うために遠距離をはるばるやってくる。だが、これらの国々では、強力なインフラを持つ工業国よりもはるかに速く、モバイル技術が浸透している。これこそが、「どこでもケア」への道を拓くものである。

米国のソフトウェア会社Dimagiは、携帯電話を利用するCommCareというプログラムを開発した。コミュニティーワーカーは、このプログラムの電子質問票を使って情報を収集し、患者に治療を受けるよう助言することができる。いずれ、さらに高度なシステムを使い、近隣での疾患の大流行や、汚染などの環境被害を監視し、患者に警告できるようになるであろう。

インドのApollo Hospitals Groupは、既にそれよりもはるかに先へ進んでいる。同グループは構造化クエリデータベースを備えたITプラットフォームで、トリアージ遠隔アドバイスと健康モニタリングサービスを提供している。このサービスは開設以来、70万件以上の通話を処理してきた。現在、Apolloは遠隔分析サービスの試験利用を実施中である。たとえば、糖尿病患者は血糖値を測定し、SMSを通じてデータを臨床医に送信できる。患者は、SMS経由で返事を受け取り、数値に関する説明と、何かする必要があるかどうかに関するアドバイスをもらう。

長期的には、遠隔手術でさえ、人手を介さずに可能になるかもしれない。da Vinci Surgical Systemは市販されている手術用ロボットシステムとしては、現時点で最先端であり、医師の立ち会いのもとでのみ使われている。しかし、イタリア人外科医Carlo Papponeが2006年に、世界初の無人手術を監督した。その際は、ボストンにあるロボットを使ってミラノにいる患者の心臓手術が行われた。

ワシントン大学の外科医、Richard Satava医師は、今後40年～50年以内に、手術は全面的に自動化されると予測する。「技術および医学全般の未来は、血液や内臓ではなく、ビットとバイトにある」と彼は語る。それが実現すれば、複雑な手術がこれまでよりも格段に広く、経済的に利用できるようになり、適切な医療施設がほとんどないような地域の患者も、手術を受けられるようになる。

研究開発：美しい仮説と醜い事実

「科学の大いなる悲劇、それは醜い事実ひとつで美しい仮説の息の根を止めることだ」

トーマス・ハクスリー（Thomas Huxley）

生産性の危機

医薬品業界の生産性の低下については既に触れた。今や状況は実に深刻であり、2020年まで残れる完全統合型製薬会社は数社しかないとPwCは予測している。一部の企業は買収され、資産を奪われる。ほかに企業はリスクを減らし株主価値に影響を与えないようにするために、研究開発部門を収益部門から切り離す。

生産性の問題には、科学的な問題と経営上の問題という2つの側面がある。ここでは科学的な問題、そしてそれに伴う意思決定について論じる。経営上の問題については次章で取り上げる。

醜い事実

2002年から2011年の間に、医薬品業界とバイオテクノロジー業界は研究開発に1.1兆米ドル近くを費やした[113]。この投資が何を生んだか。新薬が多くの国で生まれることは明らかであるが、そのほとんどが最終的に米国で上市される。このため、ある期間の業界からの全体的アウトプットがFDAの承認に反映されるという想定は妥当といえる。

2011年までの10年間に、FDAは308件の新有効成分含有医薬品（NME）と生物学的製剤を承認した。この期間に毎年、業界が研究開発にどれほどの投資を行ったかを考慮すると、承認された化合物1件あたりの年平均コストは23億米ドルから49億米ドルに上る。そして、この金額が低下する兆しは全くない。それとは逆に、コストはいまだに容赦なく上昇し続けている。この5年間に、1化合物あたりの平均コストは42億米ドルだったが、これは、その前の5年間に比べて50％の上昇である**（図1）**[114]。

わずかからより多くを生む

業界大手は既に気づいているが、このような傾向は長続きできるものではない。数社が最近、研究開発費を抑制した。たとえば2011年2月に、ファイザーは研究開発予算の3分の1を削る計画を発表した[115]。サノフィも研究開発費を削減している[116]。アストラゼネカは2,200人の研究者を解雇しようとしている[117]。

多くの大手企業が、同時に新しい研究開発のしくみを試してきた。GSKは2008年に、より豊かな起業家精神を呼び込むべく、いくつかの創薬研究中核拠点を設立し、それらをさらに小さい単位に分けた。次にサノフィが、疾患分野別ではなく疾患原因別に研究部門を再編成した[118]。

その間、イーライリリーはインクローンを買収したが、ロシュがジェネンテックに行ったように、それを独立した会社のまま残した[119]。アボットは研究部門を別の公開会社として分離しようとしている[120]。ファイザーは栄養部門とアニマルヘルス部門を売却し、リソースの集中を図っている[121]。そして、アストラゼネカはニューロサイエンス部門をバーチャルリサーチ企業に転換しようとしている。[122]

要するに、業界大手はどこも「わずかからより多くを」生もうとしているのであるが、生産性が急上昇する兆しは見えない。2012年1月から9月の間に、FDAの医薬品評価研究センターは27件のNMEと生物学的製剤を承認した[123]。丸1年で合計30件しか新薬承認がなかった2011年と比べれば改善した[124]。しかし、KMR Groupの調査によれば、1件の新薬承認を得るために必要なNMEの数は、開発のあらゆる段階で増加している。1件の承認を得るために必要な前臨床開発中のNMEの件数は、2003年～2007年には12.4件だったのに対し、2007年～2011年には30.4件であった[125]。

研究開発プロセスの前倒し

では、医薬品業界の研究開発がふるわない原因は何なのか。それを説明するために多くの説が唱えられ、たとえば、新しい標的が関与するより複雑な疾患に業界が注力するようになったため、という説がある。これは事実であるが決して全てではない。

研究開発プロセス中に製薬会社が下す最も重要で、最も難しいともいわれる決定は、どの標的あるいはメカニズムに重点を置くかという決断である。その手始めとして、主としてパブリックドメインから抽出する膨大なエビデンス情報源を照合し、ある疾患におけるメカニズムの役割に関する仮説を立てる。

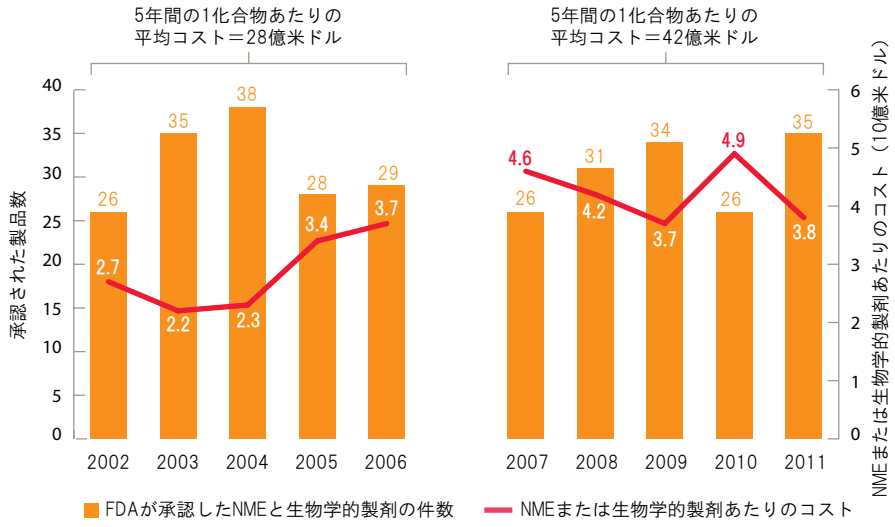
しかし、疾患の基礎的な病態生理でメカニズムが果たす役割に関し、確証となるような単一の説得力のあるデータが存在することはめったにない。そして、たとえ存在するとしてもデータは不正確かもしれない。この業界のある研究者が53件の「画期的」といわれるがん研究の追試を試みたところ、47件で再現性がないことが判明した[126]。さらにこの段階で、薬理学的な介入や望ましい臨床効果の実証が可能かどうかについては、ほとんどわかっていない。

言い換えれば、あまり情報がない状態で、その後の行動方針を決定しなければならず、しかも事は重大である。誤った選択をすれば、8年～9年後に10億米ドル以上にも及ぶ代償を支払う失敗に終わりかねない。

したがって、高くつく開発計画に着手する前に、疾患におけるメカニズムの役割を可能な限り十分に理解する必要があり、その点に集中することが不可欠である。標的の検証を目的とする橋渡し研究や、高感度なエンドポイントとなるバイオマーカーを使って設計された小規模かつスピーディーな臨床試験にもっと投資するということである。

これとは対照的に、動物実験は、ケモカイン受容体CCR5での経験でわかるように、ヒトでの有効性を予測するには非常に不正確な手段であるため、使用頻度を大幅に下げるべきである。コラーゲン誘導関節炎に関するアカゲザルの研究では、関節リウマチにおいてCCR5がある種の役割を果たすという結果が出た（HIVにおいてと同様に）[127]。しかし、ファイザーが2007年にHIV治療薬として最初のCCR5阻害剤を上市したとき、その薬を関節リウマチ患者でも試したところ、有効性を示すエビデンスは全く見つからなかったのである[128]。

図1　承認された薬剤の開発コストレベルは持続不可能といえるほど高い

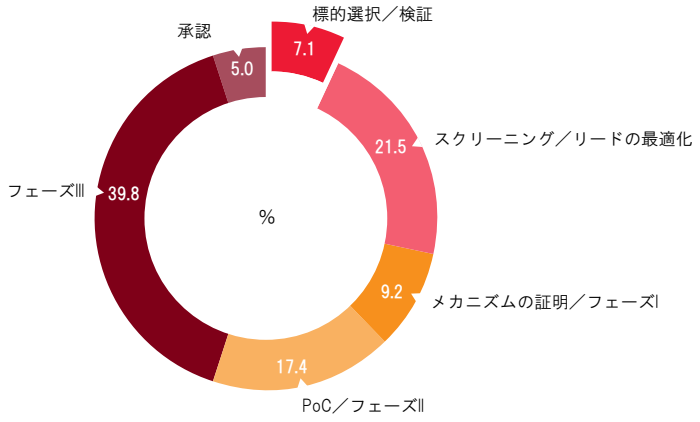


出典： EvaluatePharmaおよびPwCの分析

注：（1） 新たに承認された薬剤の研究開発費は過去の数字であるが、10年間にわたり年間投資額と年間アウトプットを比較することにより、コストが変化する方向性を正確に表すことができる。（2） 製品ライン拡大は会社により異なるため、ここではその経費は考慮に入れていない。

要するに、疾患の分子的基礎と特定のメカニズムが果たす役割を理解することに、早い時期から多額の資金を投じることで、研究がかなり進んでから巨額の損失を出すリスクが低下するのである。そして、ほかに動物ではなく、ヒトに研究の基盤を置く必要がある。ところが、製薬会社が標的／メカニズムの選択と検証に費やす額は、研究開発予算の平均7%、すなわち臨床試験の総予算のほんの一部である（**図2**）。

図2　大部分の製薬会社は標的の選択と検証に予算のごく一部しか使っていない



出典：PhRMA Annual Member Survey, 2011およびPwC調査

新たな道を切り開く

ありがたいことに、遺伝学とゲノム科学がようやく実力を発揮し始め、将来に希望を持てるようになった。全ゲノム配列決定により、過去に例のない方法による疾患の研究が可能になったのである。

2011年末までに、1,068件の全ゲノム相関解析研究の論文が発表された[129]。そうした研究では通常、特定疾患の患者のDNAを対照群のDNAと比較し、その疾患に関連する対立遺伝子を同定する。それだけでは原因の遺伝子は決定できない。しかし、全ゲノムを調べることにより、研究対象とする新たな領域を指摘することができ、臨床試験を実施せずに、ヒトの集団におけるメカニズムを確認または除外できる。

コレステリルエステル転送タンパク質（CETP）阻害剤を例にとってみよう。スタチンでの経験から、高比重リポタンパク（HDL）が心臓病において重要であることがわかっている。そこで研究者らは、HDL濃度を上げれば心筋梗塞のリスクは下がると想定した。しかし、CETP阻害剤に関する臨床試験では、肯定的な効果は示されなかった[130]。

なぜか。問題なのは、HDL濃度が日によってあまり変化せず、それどころか、月によっても変化がないことである。したがって、HDLは心臓病の優れた早期予測因子であるが、ここでは相関であって因果とは異なる[131]。そして、ゲノム科学のおかげで疑問に対する解答が得られた。研究者らは、メンデルランダム化を使い、HDLに影響を与えることがわかっている15種類の遺伝子変異型と心筋梗塞発生率の間の関連性を分析した。分析結果は、HDLを上昇させる対立遺伝子は、心臓病のリスクを下げないことを強く示唆している[132]。

遺伝学とゲノム科学を最大限に活用

大手製薬会社21社を対象に最近実施した調査によれば、現在、ゲノム科学が研究部門で果たす役割は比較的小さい（**図3**）[133]。実際、業界はその種の研究に年間わずか60億米ドル（2011年の研究開発投資総額の7％未満）しか費やしていないと推定される。

しかしゲノム科学は、急速に進歩している分野である。たとえば最近、かつては「ガラクタ」扱いだったDNAに400万以上の遺伝子スイッチが同定された[134]。したがって、製薬会社は新薬の発見と製品化のために、2020年までに、研究予算の20％もの割合を遺伝学とゲノム科学に投じる可能性がある。

また、特徴的な表現型に関する集団ベースの研究が増加しており、それも利用できる。たとえば英国政府は国民保健サービス（NHS）に登録した5,200万人に関する盲検臨床データを発表した[135]。そして2020年までには、オンライン遺伝子検査会社もまた、別の重要な情報源になるであろう（**右記「草の根研究」を参照**）[136]。より優れたバイオマーカーのスクリーニング技術と、より安価なゲノム科学の技術とを合わせれば、製薬会社はこれをヒト遺伝子にコード化されたメッセージの解読に利用できる。

ヒト染色体には2万1,000余りの遺伝子と、それに対応するほぼ同数のRNAを生成するセグメント、それらに伴うプロモーション、サイレンス、レギュレーション、両方の相互作用、そしてエピジェネティックな影響があることを考えると、それは容易ではない。また、多面発現（1つの遺伝子が複数の表現型形質に影響を与えること）が、ほとんどの科学者が当初予測したよりもはるかに多かった。このため、業界が見つけ出してくる見識の中には、何年もの学際的研究を行わない限り、新薬の創出に利用できないものがある。また、ほとんどの企業が現在、疾患分野または適応症ごとに組織され、地理的に分散しているため、情報共有のために障壁を取り払う必要がある。

だが、このような課題にもかかわらず、2020年までに医薬品業界は今よりも格段に、多数の病気の分子的基礎を解明できる立場にあるだろう。そうなれば、現在がんについて行っているように、それらを治療するための標的薬の開発に着手できる。例を挙げよう。数例の研究で、自閉症の原因となる4つの「de novo」突然変異が同定された[137]。遺伝子のリストが充実し、それらからパスウェイが組み立てられれば、分子レベルの欠陥を通じて自閉症を診断し、根底にある発症機序がまだわかっていない疾患に関して、効果的な治療法の開発が可能になるかもしれない。

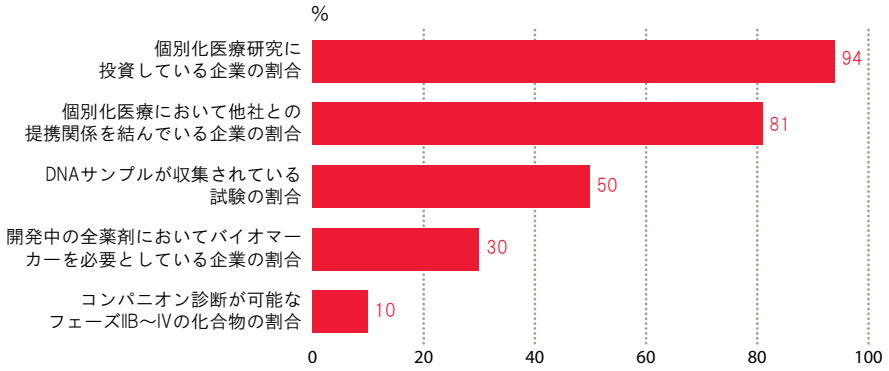
草の根研究

ソーシャルメディアサイトは遺伝子と表現型のデータの全く新しい供給源であり、多くの製薬会社が注目している。パーソナルゲノミクスサービスを提供する23andMeは、先駆的な会社の1つである。同社は検査サービスを利用する人たちに、病歴と生活習慣に関する情報を遺伝研究のために提供するよう呼びかけている。

23andMeは最近、慢性疼痛に苦しむ人たちが経験を共有できるよう助けるオンラインプラットフォームとして出発したCureTogetherを買収した。現在、Cure Togetherは500種類以上の症状に関する400万件以上の表現型データポイントを保有している。

これは強力な組み合わせになる可能性がある。23andMeは既にパーキンソン病に関する遺伝子データの大規模なデータベースを構築した。また、スクリプス研究所およびマイケル・J・フォックスパーキンソン病リサーチ財団とも連携している。そして、2012年6月に、同社は初の特許を取得した。それはSGK1遺伝子の変異型の発見に基づく特許で、ハイリスクのLRRK2 G2019S突然変異の保因者をパーキンソン病から守る手段を提供できるかもしれない。

図3　ゲノム科学の威力をフル活用している企業は少ない



出典： Tufts Center for the Study of Drug Development

焦点を絞る

創薬プロセスの早期の投資を増やし、ゲノム科学の潜在能力を活用することの重要性について論じてきたが、生産性改善のために製薬会社が導入できる対策はほかにもある。まず、対象とする治療分野を厳密に峻別することである。

多くの企業が膨大な数の疾患を、広く浅く研究しようとしている。しかし、少数分野に焦点を絞り、それに応じてポートフォリオを刈り込み、選択した研究分野のトップクラスの研究者を雇用するか、または彼らと共同研究を行うことにより、専門性を高める方が得策であるとPwCは考える。

多くの製薬会社役員が、「オープンイノベーション」のメリットを認めている（**下記「問題を共有することが解決につながる」を参照**）[138]。業界大手は大学との連携を積極的に進めている。官民の研究組織がリソースをプールし、共通の科学的ボトルネックを克服しようとする、競争前段階の創薬グループに加わる企業もある。重篤有害事象国際コンソーシアム（iSAEC）はその一例である。iSAECは既に、個別の治療を受けている患者における薬物性肝毒性および皮疹に関連する種々の対立遺伝子を同定している。現在、同団体は薬物SAEの生物学的基礎を解明する多剤耐性関連対立遺伝子の研究を行っている[139]。

長年のライバル企業も共同開発の協定を結び始めた。ノバルティスとアムジェンは乳がん治療法の共同研究を実施している。同じく、BMSとロシュはメラノーマ関連薬について協働している[140]。そして、2012年9月には、大手企業10社が、薬剤開発において頻発する問題を解決するために、TransCelerate BioPharmaという非営利団体を設立した[141]。

このパターンは続くと思われ、2020年までに、競争前段階の課題の多くが、共同で取り組まれるようになるであろう。しかし、研究者仲間との共同研究は対策の一部にすぎない。専門化という別の対策もある。あらゆる部分に手を伸ばそうとして失敗するよりも、選択した疾患分類に集中することである。

要点を絞る

開発対象とする全化合物の臨床的概念実証を行うための明確な経路を考案し、被験者と評価項目を選択するための最善のツールを使い、できる限りヒトで試験を実施することも、同程度に重要である。これについては、化合物を試験する患者の小集団を絞り込み、より迅速に欠陥を明らかにするという意味で、バイオマーカーが大いに威力を発揮する。このため、バイオマーカーを開発後期のみの要素と決めずに、市販までのルートに不可欠な要素として扱う必要がある。

さらに、N-of-1試験（1例の被験者に対して交互に2種類の治療を行うこと）やインライフ試験などの新しい試験方法も検討できる。ほとんどの企業は、規制機関が好むからという理由で、いまだに従来の無作為化対照試験の実施に力を入れている。しかし、事前に定めた計画に従い連続的に実施するN-of-1試験に関し、それで得たエビデンスを考慮する用意があることを、EMAは明らかにしている[142]。また、FDAは最近、大規模なインライフ試験に基づき、心房細動患者における脳卒中予防薬のXareltoを承認した[143]。

問題を共有することが解決につながる

InnoCentiveやKaggleなどのオープンイノベーションのプラットフォームが、製薬会社の研究方法を徐々に変えている。Pistoia Allianceも研究開発におけるベストプラクティスを考案し、記録するために、幅広い組織の医薬と情報科学の専門家の知を結集している。そして、Sage Bionetworksは、計算生物学者のための仲介役を務めている。

政府機関もクラウドソーシングに加わろうとしている。米国トランスレーショナル科学先進センターと業界パートナーのファイザー、アストラゼネカ、イーライリリーは、米国の「最も優秀な頭脳」を指名し、ヒトで研究されたものの棚上げされていた数々の化合物を研究し、それらについて新規の用途を見つけようとしている。また、2012年9月には、米大統領科学技術諮問委員会が、業界代表、学術界の研究者、患者・消費者団体、医師、保険会社のネットワークを設立し、特定の課題と取り組むよう勧告した。提案された「治療を加速するパートナーシップ」は、主に3つの機能を果たすことになる。創薬と開発の基礎となる科学、技術、方法における重要な知識の間隙部分を埋めること、臨床試験プロセスを改善すること、そして、革新的な薬剤の開発経路を明確にすることである。

オープンイノベーションは、医薬品業界が抱える多くの問題の解決につながるだろう。個々の組織内に閉じ込められていたであろう生化学的ジグソーパズルのピースを共有できるようにし、あらゆる分野の研究者に協力を呼びかけることで、製薬業界は、より進歩的な業界になるだろう。また、無駄な重複を減らして研究費を削減できるだけでなく、効果がないことを他社が既に知っている化合物に曝露されることから患者を救うことにもつながる。

どちらの試験方法も、従来の臨床試験では得られない洞察を提供できる。N-of-1試験は特に、有効性のバリエーションを検出するために役立つ。個々の患者のデータを蓄積し分析することにより、より広範な推論を導くことができる[144]。インライフ試験は、ある製品が実臨床でどの程度機能するかを明らかにし、その経済的価値を証明する（**表1**）[145]。

インライフ試験の実施は容易ではない。地域で働く医師の多くは、臨床試験に参加した経験がないため、まずは医師を訓練する必要がある。また、その種の試験のほとんどで、途中でやめる患者の穴埋めをするために、サンプル数を多めに用意する必要がある。そして、通常、医師が患者に普通の治療を行う自由があること、複数の薬剤を服用している可能性のある患者がいること、の両方の原因が、結果の解釈を一層難しくしている場合が多い。

このため、インライフ試験は無作為化対照試験の代用にはならない。また、管理に失敗すると、単にコストがかさむだけになる。しかし、ここで強調したいのはそのことではない。ここで訴えたいのは、異なる質問に答えるためには異なる試験を実施すべきだということである。そして、それを可能な限り効率的に、ますます進歩する電子インフラを使って実施すべきである（**右記「現実となった近未来」を参照**）[146]。

さらに、医療保険支払者が比較有効性のエビデンスを重視する傾向はますます強まるため、業界は上市前にその情報を収集すべきである。どのような時点でも、そのような研究の実施は重荷である（たとえば、比較のための最適な対照薬、用量と投与計画、調査母集団、比較のエンドポイント）[147]。しかも、薬剤の上市直後にそれを実施する場合は、マーケティングの初期段階中に、利用者集団の特徴が急速に変化するため、ますます難しくなる[148]。

表1　従来型試験、N-of-1試験、インライフ試験の主な特徴

	従来型試験	N-of-1試験	インライフ試験
目標	臨床的妥当性の確立： 介入は有効か？	変動性の評価：治療は特定の患者に有効か？	臨床的有用性の確立：治療は‘実臨床の場’で有効か？
環境	実験的：病院もしくは研究医療機関	通常：地域密着型医療	通常: 地域密着型医療
参加者	コンプライアンス最大化に向けて慎重に選択	一人が対象	実臨床における代表症例
介入	治療計画にそって厳密に実施	さまざまな処置を実施	日常生活における柔軟性を保って実施
対照薬	プラセボもしくは直接代替となる治療	プラセボもしくは直接代替となる治療	最も安価／最も効果的な治療法を含む、通常のケア
データポイント	臨床エンドポイント	臨床エンドポイント、QOL、リソースおよびコストの消費	臨床エンドポイント、QOL、リソースおよびコストの消費
アウトカム	条件固有の指標（しばしば短期的な副次指標もしくはプロセス指標）	条件固有の指標（長期研究における定期的な繰り返し試験）	病気の進行と広範なアウトカムを反映した長期的指標

出典： S. Treweek & M. Zwarenstein, ‘Making trials matter: pragmatic and explanatory trials and the problem of applicability’ およびPwC

現実となった近未来

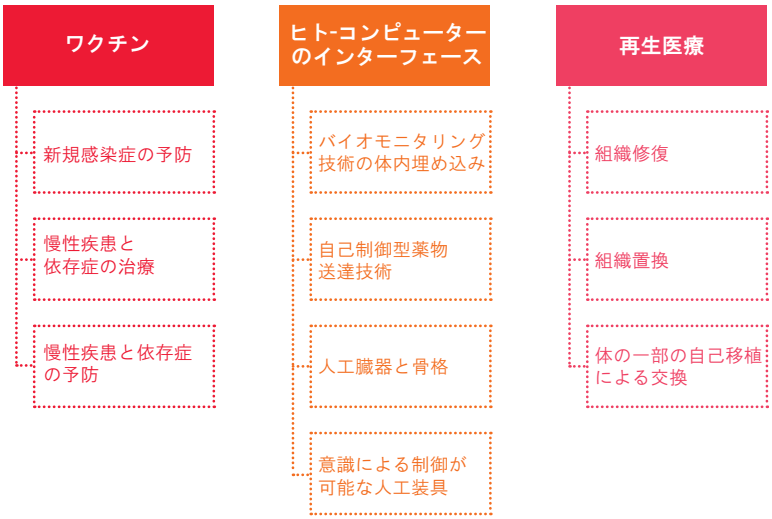
リモートモニタリング方式のパイロットを実施中の医療サービス提供者がいくつかある。英国NHSはそのようなプロジェクトの1例として、慢性病患者4,000人にタッチスクリーン式の電話を配布し、健康状態とバイタルサインのリモートモニタリングを行っている。

開発中のバイオセンサーの中にも、ポイント・オブ・ケア診断に使えるものがある。たとえば、イスラエルの化学エンジニアHossam Haickは、人工の「鼻」を開発した。これは血流から肺に移動し、息により吐き出される疾患マーカーを検出することにより、さまざまながんを見つけるものである。

現在、スタートレック風の医療用「トリコーダー」の開発競争が繰り広げられている。あのテレビの長寿番組で、架空のエンタープライズ号の乗組員、通称「ボーンズ」マッコイ医師は、体をスキャンするだけで患者の病状を診断することができた。グローバル通信機器メーカーのQualcommは最近、「重要な健康指標をとらえ、15種類の疾患を診断できる」ツールを構築した最初の人物に1,000万米ドルの懸賞金を進呈するという挑戦状を発表した。

一方、Steve Goldsteinのような発明家が思いどおりに研究を進められれば、最新オーディオ技術により、患者データの収集と分類の方法が一変する。音響専門のPersonics Labsを率いるGoldsteinは最近、「常時ONヘッドウェア録音システム」に対する特許を出願した。これは音を自動的に録音し、それを別の記憶装置にファイルする。2020年までに、EMRの記入に、このような技術が使われるようになる。医師が装着した聴音装置が自動的に患者の診察内容を録音し、情報を記憶するため、簡単に再生して、前の来院時の診察内容や、患者の全病歴をリアルタイムで聞くことができる。

図4　新しい形の医学的介入が、現在パイプライン上にある



出典： PwC

新たな治療タイプに注目する

新薬開発のスピードと能力を高めるために医薬品業界ができることについて語ってきたが、有望なのはそれだけではない。ゲノム科学がもたらした発見が楽観材料の1つであるように、研究者らが新しい形で医学的介入に取り組んでいることもまた、楽観材料である（**図4**）。

これらの新たな方向性が開拓されるにつれ、業界の選択肢は増加しており、アンバランスなほど多くのヘルスケア資源を消費するHONDA対策にとりわけ有益な介入方法もある。新たな薬剤デリバリーによってノンコンプライアンスが減り、新しいワクチンと再生医療が、特定の慢性疾患を予防または治癒する方法をもたらしてくれる。

新たなワクチンが変化をもたらす

感染症予防ワクチンによる抗体の誘導は、人類の歴史において最大の効果を上げた医学的介入である[149]。ビル・ゲイツは最近WHO総会で行った講演でそれを強調し、この10年を「ワクチンの10年」にしようと呼びかけ基本目標を設定した。まだポリオが残っている世界の1％でのポリオ撲滅、5種類～6種類の新ワクチンの開発、全ての子どもにワクチンを投与できる体制の整備である。それにより、「2015年までに400万人の命が、2020年までに1,000万人の命が救われる」とゲイツは述べた[150]。

ワクチン学の進歩は、格段に広い範囲の疾患に対し、より効果的なワクチンを開発する手段を提供している。たとえば、構造に基づく抗原設計ではX線結晶学を使い、抗原抗体複合体の三次元構造を決定した後、コンピュータを用いたタンパク質設計により抗原を操作する[151]。

新たなデリバリー技術も、抗原を免疫系に挿入する方法を拡大している。オスロ大学で、電気的刺激とDNAコードを使い、分子反応を起こす方法が開発された。この技術には2つの重要な利点がある。アジュバントの必要性がなくなり、より短時間で、より強い免疫反応が得られるのである[152]。

現在、新世代のワクチンがパイプラインに入っている。その一部はマラリアやHIVのような感染症、またはMRSAのような抗生物質耐性菌の治療を目的とする[153]。ほかにワクチンは、慢性または急性の疾患と依存症の治療を目的とする。糖尿病、肥満、心血管疾患を含む広範な慢性疾患のワクチンが、既に臨床開発段階に入っている[154]。数種類のがんワクチンも、まだ始まったばかりではあるが、かなり有望である。その一例が、患者の身体を訓練し、身体自体で腫瘍細胞を認識し破壊できるようにするという原理に基づく「ユニバーサル」ワクチンである[155]。また、ニコチンとコカインへの依存を下げるワクチンに関しても、同様に研究が進められている[156]。

非感染症のためのこれらの新ワクチンは、疾患の治癒や予防ではなく、疾患の進行を遅らせることを意図している。しかし、業界の黄金郷を代表するのは予防ワクチンであり、この分野もまた進歩している。たとえば、ノバルティスは最近、髄膜炎菌性疾患から幼児を守るワクチンの承認を申請し、GSKはマラリア予防のための組み換えワクチンに関するフェーズIII臨床試験を開始した[157]。Inovio Pharmaceuticalsは、主に北米と西欧で見られるHIVウイルスのサブタイプであるクレードBに関し、感染の治療と予防の両方が可能といわれる合成DNAワクチンの試験を実施中である[158]。

バイオニックパーツを埋め込む

ヒューマンマシンインタフェース分野も同様に、活況を呈する分野である。たとえば、マサチューセッツ工科大学（MIT）では、糖尿病患者の血糖値を追跡できるナノ粒子インクによる「スマートタトゥー」を開発中である[159]。また、中国の長慶大学では、ヒドロゲル層で被覆したチタン製ナノチューブを使い、温度制御薬剤放出システムの試作品を構築した[160]。どちらについても、医薬での利用が大いに期待できる。

また、米エネルギー省科学局が先頭に立ち、網膜疾患で失明した人の目に移植できる数百の微小電極を含む装置の開発を進めている[161]。スイスでは、頭蓋冠の皮膚に埋め込んだ電極を介して運転する車いすを開発中である。信号を処理し、外部の物体に対して無線で信号を伝送する装置を神経に直接移植する動物実験も実施されている[162]。英国の人工頭脳工学の教授であるKevin Warwickは、自分自身の神経系に埋め込んだ神経インプラントの試験を実施した[163]。

新しいボディ部分を育てる

再生医療により、いずれ生体力学的補助具を使う必要がなくなるかもしれない。現在、ダーマグラフトなどの組織修復用製品が販売されている。しかし、それは最初の一歩にすぎない。次の一歩は、3Dバイオプリンターを使い、ヒト細胞由来の「インク」で生きた細胞をプリントする組織置換である。

この分野では、さまざまな組織が既に前進している。たとえば、2010年後期、米国のバイオテクノロジー企業Organavoは、1人の細胞から培養した細胞を使ってバイオプリントした初の血管を作製した。また、バイオプリントした神経移植片のラットへの移植に成功し、2015年までにバイオプリントした組織のヒトでの臨床試験を開始しようとしている[164]。

もちろん、究極の目標は損傷した神経組織や臓器全体の置換であり、それは大きな難題ではあるが、もはや現実離れした夢物語ではなくなった。2012年1月、中国人民武装警察部隊総合病院の研究者が、運動ニューロン疾患の治療に臍帯幹細胞を使うフェーズII臨床試験を開始した[165]。そして2012年6月に、米国のバイオテクノロジー企業Advanced Cell Technologyが、目の中心視を破壊するスタルガルト病の治療を目的として、胚幹細胞から作られた網膜色素上皮の臨床試験を開始した[166]。

だが、科学者がどのようなことを達成できるかを最も如実に表す例は、2011年半ばに行われた驚くべき国際的コラボレーションであろう。ロンドンのUCL医科大学においてスキャフォールド上で「育て」、Harvard Bioscience製バイオリアクター中で患者の骨髄由来の幹細胞に浸漬した気管を使い、ストックホルムのカロリンスカ研究所の医師らが世界初の合成臓器移植を完成させたのである[167]。

帰って来たブロックバスター

そこで、個別化の有無に関わらず、従来型の医薬品は業界の唯一の希望ではない。それどころか、業界の選択肢は着実に拡大しており、2020年までに、多様化は現在よりもはるかに進むと考えられる。ただし、これらの選択肢の多くには、研究開発、製造、流通における抜本的な変更が必要である。

たとえば、ヒトの細胞と組織を動物で試験するとき、種間免疫反応が起きることが、結果を複雑化する。それに加え、健康な動物と病気の動物の体内でのそれらの細胞の分散には、しばしば変異があり、それは使用する安全性のエンドポイントに影響を与える可能性がある。遺伝子療法と細胞療法のヒトにおける試験にはほかにも問題があり、望ましくない突然変異や、移植した遺伝子の生殖系細胞や経胎盤性細胞への伝達などのリスクが考えられる。ただし、後者はまだ観察されたことがない[168]。

細胞療法と組織療法の製造と特徴決定には、ほかには存在しない独特の問題もある。生きた細胞は不安定なため、製造工程の各段階で、生物学的変動による影響を評価することが不可欠である。さらに、細胞療法と組織療法は最終段階で滅菌を行うことができず、最初の細胞供給源や最終産物を凍結保存すると、品質が損なわれるおそれがある[169]。

要するに、これらの新療法の多くが、従来型薬剤の製造よりもはるかに複雑な開発、製造、流通プロセスを必要とするのである。それでも、それらは臨床とビジネスの両面で莫大な価値も生む。一般的な慢性疾患を予防するワクチンや、神経変性障害を治癒する幹細胞療法は、繰り返し処方することで利益を生むわけではない。しかし、永久の解決策を提供するという、まさにその理由で、はるかに高い価格をつけることができる。そのような製品こそ、明日のブロックバスターである。

オープンマインドを保つこと

しかし、会社がどのような疾患や医学的介入形態に重点を置こうと、新しい治療法を発見して開発するために、どのような方法を選択しようと、それらの要因とはかかわりなく、不可欠なことが1つある。臨床的概念実証が行われるまで、常にオープンなマインドを持ち続けることである。美しい仮説が醜い事実で息の根を止められるのを見ることは、常につらいものである。その仮説に対して多額の資金を投じていれば、それはさらにつらくなる。

ポートフォリオ管理：最高のジャムの選択

「賭け事をするときは最初に3つのことを決めなければならない。ルール、賭け金、止め時だ」

中国のことわざ

味の種類が多すぎて戸惑う

1995年、社会科学者のSheena Iyengarは、高級ジャムのメーカーを装い、米国の食料品店に試食ブースを設置した。そして、2時間～3時間ごとに、6種類の味と24種類の味を切り替えた。品揃えの規模とは無関係に、客は平均2種類の味を試食した。

この実験の要点はこうなる。選択肢が少ないときに立ち寄った客は40％にとどまり、60％が選択肢の多いときに立ち寄った。ところが、6種類の味の選択肢を与えられた客の30％がジャムを買ったのに対し、24種類の味を与えられた客では3％しかジャムを買わなかったのである。2ダースもの試食品を前にして、ほとんどの客は迷いすぎて決断できなかったのである[170]。

パイプライン中で、どの薬剤候補を先へ進めるかという選択は、どのジャムを買うかという選択よりもはるかに難しく、その選択によりもたらされる影響は大きい。だが、多くの製薬会社が、食料品店の客と同じように振る舞う。ただし、両者の間には大きな違いがある。何も買わずに立ち去るのではなく、製薬会社はあらゆる味のジャムを買うのである。

表1　開発パイプライン中に多数のプロジェクトを持つ大手製薬企業

企業名	前臨床	フェーズI	フェーズII	フェーズIII	合計
Abbott Laboratories	40	35	51	16	**142**
Amgen	21	47	74	14	**156**
AstraZeneca	27	80	116	27	**250**
Bristol-Myers Squibb	57	94	114	23	**288**
Eli Lilly	22	62	126	24	**234**
GlaxoSmithKline	46	115	217	44	**422**
Johnson & Johnson	30	48	73	15	**166**
Merck & Co.	35	60	82	35	**212**
Novartis	27	79	225	50	**381**
Pfizer	71	92	120	31	**314**
Roche	49	127	133	37	**346**
Sanofi	33	64	80	31	**208**
Total	**458**	**903**	**1,411**	**347**	**3,119**

出典：EvaluatePharma。フェーズIIIの値はEvaluatePharmaのデータを、各企業が報告するパイプラインに関する入手可能な最新情報およびClinicalTrials.govと相互参照して確認した。
注：中止したプロジェクトは除外した。

失敗の苦い味

第4章では、医薬品業界におけるR&D生産性の低下の背後にある科学的要因について論じた。経営上の要因も大きな役割を果たしており、最大の要因の1つは、お粗末な決断である。表1に示したように、業界大手の多くが、100件以上のフェーズIIまたはフェーズIIIのプロジェクトを抱えている。これらのプロジェクトの大部分が失敗に終わる運命にある。

ここ20年間、臨床試験の損耗率は急上昇してきた。だが、それよりもさらに示唆に富むのが、いつ、そしてなぜ、それほど多くの化合物が失敗したのかという点である（**表2**）[171]。フェーズII試験中に、相当割合の製品が戦略的理由から開発を中止していることについては、同様の化合物をパイプラインに持つ企業間で開発活動が重複している点が問題として考えられる。このことは、企業間の提携が活発化する理由ともなっている[172]。しかし、それよりもはるかに深刻な第2の問題がある。

2007年から2010年の間に、83件の化合物がフェーズIII試験中または申請手続き中に不合格となった。CMRインターナショナルの分析によれば、そのうち66％は有効性が不十分であったために最終段階の直前に不合格となった。32％はプラセボと同等レベルの、また5％は対照薬群と同等レベルの効果しか得られなかった。そして29％はアドオン療法としての実質的なベネフィットを示さなかった[173]。

要するに、多くの企業が、フェーズII PoC（Proof of Concept）試験でわずかな有効性しか示さない候補薬においてもフェーズIII試験を強行しているようだと研究者らは結論づけた。また、作用機序に関連性があるという確かなエビデンスなしに、ある疾患での成功が別の疾患での成功につながると考える企業も多いようである[174]。

つまり、製薬会社はあらゆる味のジャムを買い込むために巨額を費やしているが、結局は、そのほとんどが不合格に終わっているのである。証券アナリストのアンドリュー・ボーム（Andrew Baum）の言葉を借りれば、製薬会社は「臨床後期により多くが不合格になり、コストが無駄になってしまい」、それが「世界チャンピオン級の価値破壊を引き起こした」のである[175]。

なぜか。それは多くの企業がリスクと価値の関係をきちんと理解していないためである。さらに、企業は楽観的すぎる。その結果、あまりに多くのことに着手しようとするのである。

表2　過去20年間に臨床試験の失敗率が急上昇した

	中断率		失敗要因
	1990	2010	
フェーズI	33%	46%	
フェーズII	43%	66%	有効性の問題（51%） 安全性の問題（19%） 戦略的問題（29%）
フェーズIII	20%	30%	有効性が不十分（66%） 安全性の問題（21%）

出典：Fabio Pammolli et al.,‘The productivity crisis in pharmaceutical R&D’; Steven M. Paul et al.,‘How to improve R&D productivity; and John Arrowsmith,‘Trial watch: Phase II failures: 2008-2010’;‘Trial watch: Phase III and submission failures: 2007-2010’; and‘A decade of change’

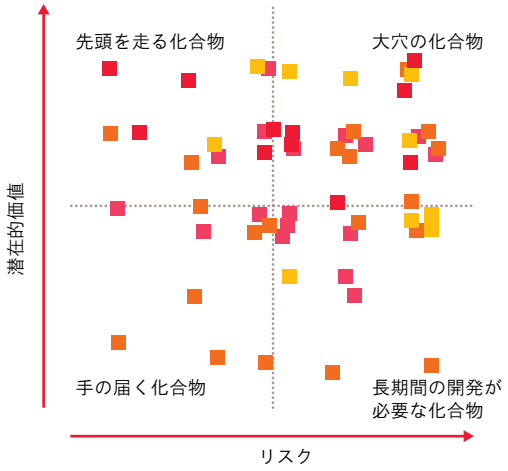
ルール、賭け金、止め時を決める

そのような企業がすべきことは何か。新規の化合物をひねり出すことは無理なので、選択肢は限られる。できるのは、ポートフォリオを刈り込み、成功の確率が最大の化合物に焦点を絞ることである。目安となる2つの要素がある。治療法に関する専門知識と、パイプライン中の各化合物のリスクと価値の比である。先頭を走る化合物と大穴の化合物、手の届くところにある化合物と時間がかかる化合物を見分けるには、リスクと価値をプロットして、相関関係を図示してみるとよい（**図1**）。

ほとんどの企業は当然、ポートフォリオ中の化合物のリスクと潜在的価値を検討するが、手元にある全ての情報を活用することはめったにない。たとえば、リスクを評価するときに注目するのは、標的またはメカニズムの新規性はどの程度か、理論上の根拠はどの程度信頼が置けるか、などの技術上のリスクである。市場へのアクセスや既存の代替品と比べて十分な改善を提供するか、などの商売上のリスクの検討に費やす時間はそれよりもはるかに短い（**表3**）。

同じく、潜在的価値の検討においても、医療保険支払者や医療サービス提供者がどう考えるかを十分に検討しない。ここで問題なのは、ある種の疾患に関してはアウトカムの定義についてコンセンサスが築かれておらず、そのため新薬から生じる価値を評価する共通の方法がないことである。ところが、ほとんどの企業はこの問題に関し医療保険支払者や医療サービス提供者と話し合わない。数少ない尊敬すべき例外がある。現在、GSKは薬剤が研究所から出る少なくとも5年前に、医療分野の政府職員や保険会社と相談している。2011年に、サノフィはフェーズI開発計画全体のストレステストを実施するために、Medco Health Solutionsと契約した[176]。ただし、このような企業はまだ少数派である。

図1　リスク対価値の明確な枠組みが意思決定の改善に役立つ



出典： PwC

表3　リスク対価値の比を求める式には多数の項がある

潜在的価値	リスク	
	技術と規制に関するリスク	**商業上のリスク**
疾患の有病率	疾患はどの程度複雑か。	ほかに何社がその疾患と取り組んでいるか。
疾患の深刻さ	生物学的標的はどの程度新しいか。それの達成はどのような意味を持つか。	ほかにいくつの治療オプションがあるか。
個々の患者を治療するコスト	作用機序はどの程度新しいか。	競合する療法と比べ、製品は十分に優れているか。
疾患に対する総医療支出	理論的根拠の信頼性はどの程度か。	普通のケアと比べ、それは十分に優れているか。
ジェネリック医薬品と薬剤以外の代替療法	薬物動態やバイオアベイラビリティに関してどのような問題があるか。	競合する療法と比べ、製品の経済的な特徴はどうか。
製品の有用性	製品の承認のためにコンパニオン診断薬が必要か。	医療保険支払者と医療サービス提供者はそれを使いたがるか。どのようなインセンティブが必要か（たとえば、患者アクセス保障や付属サービス）。
競合する療法と比較した安全性、有効性、使いやすさの改善度	製品の承認のためにコンパニオン診断薬が必要か。	医療保険支払者と医療サービス提供者は製品に対して支払う意志があるか。あるとすれば、どの程度なら支払うか。
代替製品と比較した製品独自のセールスポイント	概念実証からの距離はどの程度か。明確な開発計画があるか。	それを購入するために、医療保険支払者と医療サービス提供者は何を要求するか（たとえば、アウトカムデータ、値引き、リスク共有契約）。
その製品による全体的な医療費の削減	その製品には複雑な製造工程や処方設計、包装が必要か。	患者はその製品を処方どおりに服用するか。
プレミア価格での販売の可能性	見込まれる承認前の規制ハードルと承認後の規制要件は何か（追加試験、リスク管理など）。	将来の可能性（たとえば、製品ラインの拡張やOTC処方）。

出典： PwC

優秀な投資マネージャーはポートフォリオから目を離さない。

バランスの取れたポートフォリオの整備

次の段階は、投資マネージャーが金融資産を管理するときのように、バランスの取れたポートフォリオを整備することである。責任感のある投資マネージャーであれば、運が良ければ大きな利益を生むがリスクも大きい資産に、顧客の全ての資金を賭けることはしない。安定した収入が得られる平凡な株と少数の投機性の高い投資を組み合わせる。

ところが、多くの製薬会社が、潜在的利益が最大の化合物に集中すべきだと思い込んでいる。また、パイプライン上の製品のリスクを過小評価するか、または潜在的価値を過大評価している。その1つの理由は、それに関与する研究者の意見に頼ることで、研究者が自分のかかわるプロジェクトを「誉め上げる」のは当然である。そこで、どの製品の開発を中止し、どの計画を進めるかを決定し、評価プロセスでの完全な客観性を保つために、役員で構成される独立した委員会を設置することが不可欠である。

さらに、それを年に1回～2回の活動にしてはならない。優秀な投資マネージャーはポートフォリオから目を離さず決定したリスクと潜在的価値のバランスを保つよう、常時、資産の売買を行う。対照的に、ほとんどの製薬会社が半年に一度しかポートフォリオを検討しない。

確かに、新薬候補は株ほど大きく上下しない。それでも前述のように、クリニカルパスは半年で完全に設計し直すことができる。したがって、薬剤のポートフォリオを継続的かつ動的に監視し、断固とした決定を下すことが不可欠である。

差別化というアプローチの採用には、2つの利点がある。まず、重点を置くことを選んだ候補に費やす資金が増え、上市の可能性が上昇する。次に、研究開発費を削減できる。そして、たとえアウトプットは増えず、単にコスト削減のみに成功したとしても、生産性は改善される。

投資家のように考える

しかし、企業の研究開発ポートフォリオをほかに要素から切り離して検討するだけでは不十分である。経営陣は業界他社のポートフォリオと比較し、自社ポートフォリオがどの程度強いか弱いかを考えなければならない。投資家が投資先を決定するとき、さまざまな企業を比較する。世界的な不況により、資本を獲得するための競争はし烈である。

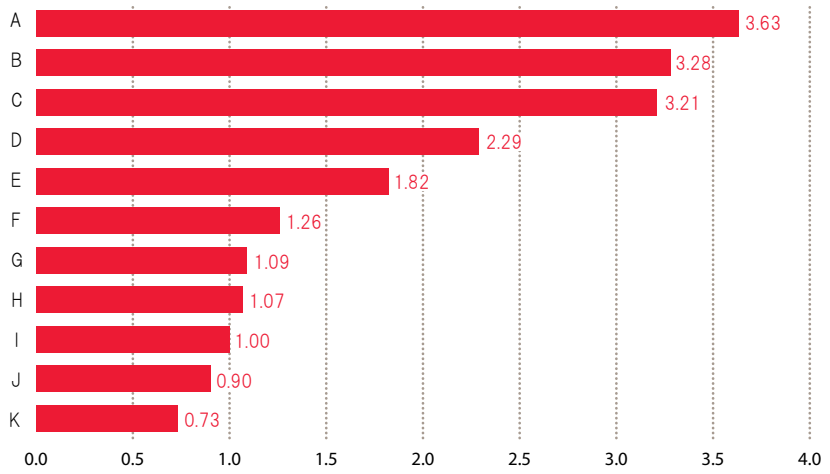
投資家のように考えることにより、役員は社外の人と同じ目で会社を見ることができる。

投資家のように考えることにより、役員は社外の人と同じ目で会社を見て、隠れた思い込みを顕在化させることができる。この意味を説明するために、薬剤の価値を評価する標準的方法であるリスク調整後正味現在価値（以下、rNPV）を使い、上場している業界大手について考察する。

業界大手11社のパイプラインを検討したところ、フェーズIIおよびフェーズIIIの主要候補（つまり、アナリストがrNPVを割り当てたもの）の量と質にかなりの差があることが判明した[177]。これはパイプライン全体のrNPVに、かなりの差があることを意味する。しかし、11社が研究開発に投資する合計金額も異なるため、真に意味があるのは、研究開発費とパイプラインのrNPVの間の関係である。**図2**に、ある年と翌年で研究開発費に大きな差があった場合に生じる誤差をなくすために、過去10年間の平均年間研究開発費を使い、その2つの値を比較した。

この単純な比較から、過去10年間の平均年間研究開発費の3倍以上のパイプラインrNPVを持つ企業が3社あることがわかる。逆に、2社のパイプラインrNPVは平均年間研究開発費よりも低い。

図2　パイプラインリスク調整後NPVと研究開発費の比は企業間でかなり異なる



出典： EvaluatePharma および PwC の分析

注：各パイプラインのrNPVは、アナリストが数値を割り当てたフェーズIIおよびフェーズIIIの全製品のrNPVを総合した値である。各製品のrNPVは、2018年までの合意された売上高予測を使い算出した。2018年よりも後の売上高、コスト、その結果としてのキャッシュフローは、2032年までの各製品の有効期限に関して予測した。2032年よりも後のキャッシュフローの値の算出には、Terminal growth methodologyを使用した。全ての研究開発費は「回収不能原価」として扱った。

これらの差の一部は、11社が化合物を自社で基礎から開発するのではなく、インライセンスにより取り込む割合の違いによる。普通、研究開発費は損益計算書を通じて経費として計上されるのに対し、前払いのインライセンス料金とマイルストーン支払金は普通、資産勘定として計上され、その結果として得た製品の有効期限の間に減価償却される。

企業が重点を置く治療法の種類と、資産の分散状況も一因である。プライマリケア製品に必要な臨床試験は、専門製品に必要な試験よりも、大規模で資金がかかることが多い。そして、開発後期の資産が多い企業は、開発初期の資産が多い企業よりも、より多くの費用を臨床試験に費やしているものと考えられる。

しかし、これだけで説明するには、変動があまりに顕著である。そこで、**図3**で各社の後期パイプラインの構成を詳しく調べてみた。各パイプラインの主要候補薬を、最高価値（rNPVが10億米ドルを超えるもの）から最低価値（rNPVが1億2,500万米ドル未満のもの）までの6種類に分類した。

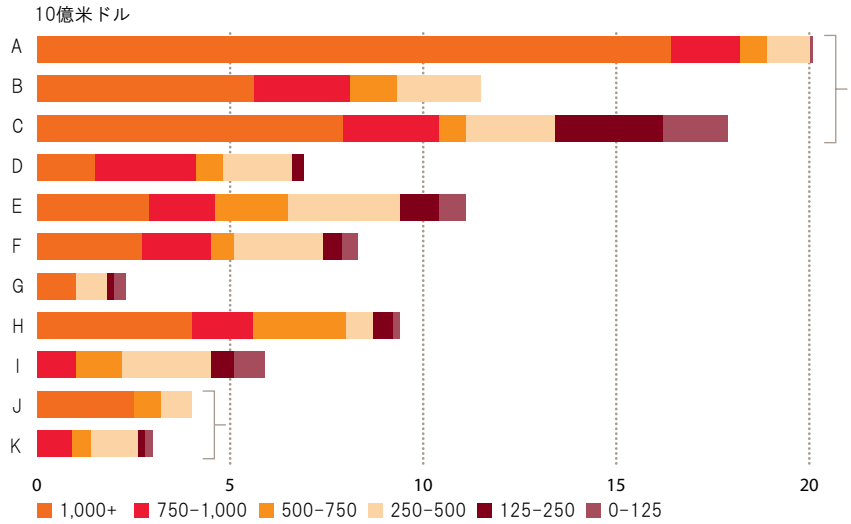
A社は開発後期の10種類の主要化合物を持ち、4種類のrNPVが10億米ドル超である。これらの化合物を総合すると、全パイプラインrNPVの5分の4に相当する。J社も価値スペクトルのトップエンドに集中しているが、開発後期の主要候補薬の数がはるかに少ない。

B社とC社は、それよりも広く網を広げている。それでも、rNPVが10億米ドル超の化合物がパイプラインrNPVの40％を超える部分を占める。それに対し、K社はポートフォリオ中に、そのような化合物を全く持っていない。潜在的価値が5億米ドル未満の製品が、同社のパイプラインrNPVの5分の2を占める。

では、このような違いの理由は何か。治療法の重点とリスク管理能力という2つの要因が重要な役割を果たしている。A社は精選するタイプである。低リスク高価値戦略を追求し、クリティカルマスと厳密なポートフォリオ管理を組み合わせてリスク管理を行ってきた。それに対し、B社とC社はリスクを広く分散させて管理してきた。両社とも、より広範な治療範囲で、より幅広い種類の製品を開発している。また、ポートフォリオに「安全で平凡な」化合物を混ぜることのメリットを認識している。扱いに失敗すると、この戦略は企業の重点を希薄にするおそれがあるが、パイプラインrNPVを見ると、B社とC社は適切なバランスを維持しているようである。

言い換えれば、最も有望な（rNPVに基づく評価で）パイプラインを持つ業界大手3社は、ゲームのルールを決め、それにしたがってきたのである。PwCが全ての製薬会社に勧めるのは、そのようなやり方である。規律を守った継続的なポートフォリオ管理により、最も弱い化合物を引き下げる。先頭を走る化合物に重点を置き、いくつか平凡で安全な化合物を入れて安定性を与え、大きな利益をもたらす可能性がある少数の大穴を加える。研究開発費を減らす。そして、会社が行っていることを効果的に伝達する。賭の勝者は、いつ投資に倍賭けするか、いつ手を引くかを心得ている。

図3　価値分散の様式は企業間で大きく異なる



出典： EvaluatePharma および PwC の分析

企業カルチャー：原因と解決策

「人間の本当の価値は、全てがうまくいき満たされている時ではなく、試練に立ち向かい、困難と戦う時にわかる」

マーティン・ルーサー・キング（Martin Luther King, Jr.）

組織の中で人がいかに思考し、行動するかを決定する価値観、信念、習慣、管理スタイルは、決断プロセスに根本的な影響を与える。そして、組織を運営する環境が変わるとき、そうした特徴もしばしば変わる必要がある。しかし、ほとんどの製薬会社が、20年前に浸透していた企業カルチャーにいまだに頼っている。

1980年代と1990年代は、経済が比較的安定していた時代だった。今日、経済は当時よりもはるかに不安定である。また、成長市場の台頭と男女平等の拡大により、富の世界的分散状況も変化している。

1980年代には、まだ遠方の水平線上に見えるのみだった人口統計学と疫学上の動向が、同時に目の前に姿を現す一方、最先端の通信技術によって個人のエンパワメントが進んだ。このフェイスブック使用の時代においては、患者は自分がつき合う組織や服用する薬に関して、歴史上のいかなる時代よりも多くのものが見えるように、また発言することができるようになった。

医薬品業界のビジネスモデルも、ほとんど見違えるほどに変わった。1980年代と90年代に、業界は慢性疾患の薬を作って医師に売り、それらをブロックバスターにすることに力を入れていた。今日の業界は、専門薬に集中し、医師とは異なるより厳密な基準で医薬品を選択する医療保険支払者に対して商売をしている**（表1）**。

しかし、そのような根本的な変化にもかかわらず、多くの製薬会社の組織カルチャーはほとんど変わっていない。または、たとえ変わったとしても、悪い方にしか変わっていないという意見もある。ライフサイエンス分野のベンチャー資本家Bruce Boothは、「業界大手のカルチャーは、画一化され、精製され、殺菌され、泡立てられ、かきまぜられ、ろ過され、イノベーションに必要な良い材料を発酵させる能力を失ってしまった」と論じる[178]。

業界のR&D生産性低下の原因を、文化的な影響ととらえるのは、Boothだけではない。最近実施された研究開発担当役員150人の調査では、創造性の不足が組織としての重要な問題であるとした回答者が54％に上り、研究開発部門と営業部門の調整不足を挙げた回答者も53％に上った[179]。

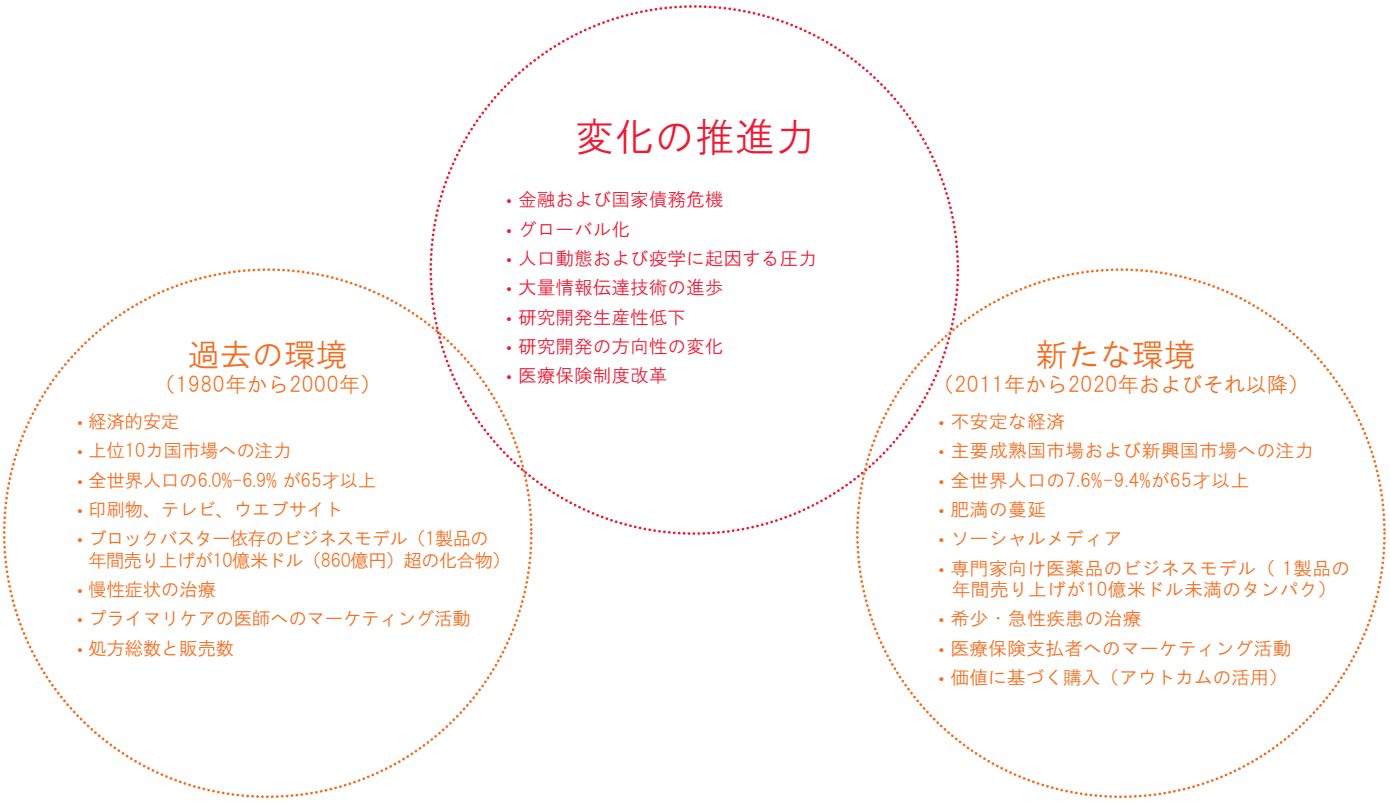
なぜこのような「文化的硬化症（cultural sclerosis）」ともいえる状況が生まれてしまったのか。考えられる1つの原因は、業界のトップ役員たちのほとんどが、ブロックバスターモデル全盛時代にビジネスを学んだことである。また、役員たちは社内で出世したか、または同業他社から引き抜かれたため、当然、居心地良く感じる既存のカルチャーを推進しようとする傾向がある。

新しい経営方法を信奉する若手役員の指名と、現状維持は不可能だという社内の認識が広がったことにより、状況はゆっくりと変わろうとしている。売上、利益、株価が下がり、余剰人員の解雇が増えるにつれ、多くの社員が古い時代が本当に終わったことを実感している。

だが、在職年数が短いことには弊害もある。2000年に、最高経営責任者の平均在職年数は8.1年だった。2010年には6.6年まで下がった[180]。医薬品業界では、それはさらに短く、最高経営責任者の通常の在職年数は4.8年、研究開発責任者ではわずか3.6年である[181]。製品開発サイクルが少なくとも10年という業界にとってこれは特に問題である。詰まるところ、現職経営陣は最後まで見届けることがない事項に関して重大な決定を下さなければならないのである。

まとめると、今日の医薬品業界のトップたちは手ごわい試練に直面している。全く異なる状況で得た経験を頼りに、ミスを冒す余裕もなく、大しけの海の中で会社の舵取りをしなければならないのである。

表1　製薬企業を取り巻く状況は激変した



出典： PwC

イノベーションの成功には、強いリーダーシップ、コミットメント、確実な決断が必要である。

よりイノベーティブな文化を創造する

では、業界トップたちにできることは何か。より創造性に富む企業風土を育て、会社を活性化するために始められる変革は多いとPwCは考える[182]。

トップマネジメントチームに新しい活力を吹き込む

イノベーションの成功には、強いリーダーシップ、コミットメント、確実な決断が必要である。また、オープンなマインドと実験する勇気も必要である。ほとんどの管理職が同じ鋳型から作られたような会社では、どちらの特性もなかなか見つからない。

医薬品業界だけに限ることではないが、ほとんどの製薬会社の経営トップではジェンダーや人種の多様性が低い。BoardExグローバル・リーダーシップ・データベースに掲載された医薬・バイオテクノロジー分野の管理職3,933人中、女性はわずか10.5％である。同様に、国籍を公開した1,500人中、北米と欧州以外の国の出身者は10.2％である。BRIC経済圏出身者は55人しかいない。しかし、グローバリゼーションと成長市場の台頭が進む今、製薬会社は求人の範囲を拡大する必要がある。

ほかの業界の第一線で活躍する役員を雇用しようと考える企業もあるかもしれないが、それは慎重に行う必要がある。医薬品業界は、ほかのほとんどの業界よりも専門知識に頼る傾向が強く、外部から人を引き入れることは常に良い結果を招くとはいえない部分がある。とはいえ、広い人材プールからの雇用は新しい発想と方法へのアクセスを可能にし、激動の時期に製薬会社が良い成績を上げるために役立つ。

明確なルールを作り、それに従う

社員と利害関係者の双方が、自分が置かれている状況を知る必要があるため、明確なルールを設けることは必須である。どんなイノベーションが欲しいのか、どんな方法でイノベーションを評価しようとしているのか、イノベーションを行う代わりにどんな代償を払う用意があるのか、について、経営陣は社内に対して明らかにするべきである。また、正しいリソースが正しい場所にあることを確認する必要もある。

社外向けには、経営陣は投資家に対し、今後数年間に会社が予定する研究開発投資額を伝え、短期的な成果を求める風潮の中にあってもその信念を貫かなければならない。ゼネラル・エレクトリックの名高い最高経営責任者Jeffrey Immeltは、長年この方針にしたがってきた。「10年、20年という期間が経過する間に、難しいビジネスが最高の利益を上げた。時がたてば計算どおりになる」[183]

階層を減らす

官僚主義が高じると創造性は衰退する。そして、大手製薬会社はきわめて官僚主義的になる傾向がある。可能な限り多くの中間管理層を撤廃し委員会の数を減らし、トップ直属の自立的な研究開発チームを創設することを推奨する。これらのチームをバイオテクノロジークラスターに設けることで、イノベーションを刺激することもできる。

しかし、最大のポイントは障害物の撤去である。どの研究開発チームにも、具体的な課題と予算と時間枠を与え、その先は、大量のペーパーワークや、気まぐれな経営方針の変更や、次の人員整理を生き延びられるかという心配に惑わされることなく、タスクに邁進できるようにすべきである。チームが目標を達成できなければもちろん責任を取らねばならないが、まずは自らの仕事をさせるチャンスを与えるのが先決である。

体制に順応しない人を雇用し、ネットワークを築く

製薬会社を含め、ほとんどの企業は「会社に合う」人を雇おうとする。だが、時には「ふさわしくない」人を雇った方がいいこともある。現状に挑戦するのは、そのような人材だからである。イノベーションにおいて一匹オオカミ的な社員が中心的役割を果たすことは、多くの調査で確認されている[184]。普通、そうした人たちは独立心旺盛で、自分のすることに情熱的に取り組み、進んでルールを破ろうとする。このため、管理することは容易ではないが、すばらしいインスピレーションの源泉になる。

しかし、究極的には、イノベーションは個人に依存するわけではない。それは社内と社外（たとえば、提携企業、仕入先、顧客）おける人々で構成されるネットワークの産物である。それは製薬会社の場合に特に言えることであり、ゲノム科学などの最新科学はあまりに複雑なため、それらが提供する洞察を解明するには、学際的アプローチを必要とする。このため、異なる事業部門や組織の間の障壁を越えたネットワークを築き、最善の科学的能力を利用するための真の協働を奨励することもまた重要である。

近年、オープンソースの研究開発イニシアティブが多数開始されており、その一部は大成功を収めている。ただし、文化面での重大なハードルが依然残っている。大きなつまずきの要因は、協働で新たな資産を開発するチャンスが与えられるにもかかわらず、知的財産の共有を恐れることである[185]。第2の要因は、「不必要なまでに排他的なビジネスプロセスを［業界が］手放したがらない」ことである[186]。

正しい評価と報酬の使用

多くの製薬会社は誤った基準を用いて評価し、それに基づく報酬を与えている。たとえば、イノベーションを評価するために、純粋に財務分野の基準を使う。新規化合物をヒトでの試験の直前の段階まで開発した研究者に報酬を与えるという基準を設けたため、見込みのない化合物の開発をパイプライン上で先へ進める傾向を助長してしまう。さらに、科学的な専門知識は管理職としての能力を保証しないにもかかわらず、科学者として優秀な者を管理職の地位に昇進させる。

PwCの経験に照らすと、財務と非財務（やる気やコミットメントなど）のメトリクスを組み合わせた評価システムの方がよりよく機能するといえる。そして、異なる種類のイノベーションを評価できる程度にシステムを柔軟にし、理解しやすいようにする。同様に、化合物が概念実証に到達するかまたは深刻な問題を解決したときにのみ、科学者に報酬を与える方がよい。そうすることで、臨床現場で活用できる現実的な成功可能性がある化合物を作るよう科学者に促すことができる。また、それは研究と開発の間の結びつきを強化する。

だが、成功に対して報酬を与えるだけでは十分ではない。より上市可能性の低い候補をできるだけ速く脱落させるためのインセンティブを与えることにより、「開発早期に、安上がりに失敗する」という心構えを奨励することも、同じように重要である。失敗に対して社会的または経済的な罰を与えることは、リスクを引き受ける気持ちをそぎ、創造性を冷え込ませる。

試練と論争の時代

企業のカルチャーが変わるのは、そこで働く社員の考え方、話し方、決断、行動が変わるときに限られ、それは経営陣がその方法を示したときにのみ起きる。医薬品業界のビジネスリーダーが新たな道を開拓することが、今ほど必要とされた時代はない。

業界は根本的な変化の時期を迎えている。この移行期を乗り切ろうとする企業は、高い価格を請求するのではなく、価値を提供することに焦点を絞る必要がある。そして、製品をサービスで補わなければならない。そして、ヘルスケアの「共同体」にとって欠くことのできない構成要員になる必要がある。

最も聡明でカリスマ性がある役員は、既にこのことを心得ている。彼らが築こうとしているのは、探検する勇気と、異なる条件下で好成績を上げるための柔軟性を備えた組織である。ほかに役員は相変わらず、安楽だった過去の時代を彷彿とさせるような企業を率いている。だが、企業の究極的な価値はそれを率いる人々の価値と同じく、「快適で楽な時代に」どのような立場をとるかではなく、今のような「試練と論争の時代に」、どのような立場をとるかで決まるのである。

医薬品業界のビジネスリーダーが新たな道を開拓することが、今ほど必要とされた時代はない

結論：
ビジョンから決断へ

「ほとんどどのような状況でも切り抜けることができる。どのような溝からでも、道を見ることさえできれば、必ず抜け出す経路がある」

ヒラリー・マンテル（Hilary Mantel）

今後数年は医薬品業界にとって暗く見えるかもしれないが、次の10年が新たな生産性と繁栄の黄金時代をもたらすとPwCは確信している。以前のファーマ2020レポートで、将来に関するビジョンを論じた。ここでは、いかにして企業が、前方に立ちはだかる変化から利益とより良いアウトカムとを引き出せる存在となって2020年に到達できるか、ということに重点をおきたい。

最大の課題は、患者、医療サービス提供者、医療保険支払者のために、そして株主のためにも、より多くの価値を創出することである。もちろん、各社が歩む道は、それぞれの目標と状況により異なるだろう。しかし、いくつかの共通する必須事項がある。

- 企業は自社の薬剤がもたらすアウトカムについて実臨床におけるデータを提供する必要があり、このためには当該データを入手するための適切なインフラストラクチャを構築することが必要になる。
- 企業は（もし投資するならば）どの程度成長市場に投資するか、どこに投資するか、対象国においてどのような戦略をとるかを決定する必要がある。たとえば最大市場が最も収益性の高い市場ではないかもしれないし、追加の関税を支払うよりもローカルの生産機能を構築するコストを支払う方がよいかもしれない。
- 企業は自社が取り組もうと考える疾患をより慎重に選択する必要がある。また多くの企業はワクチンや再生医療といった新規治療に投資することの意味合いを考える必要があるだろう。
- 企業は遺伝学やゲノム科学により多くの金額を投資し、自身の科学的側面における生産性を向上させるためにR&Dプロセスを変革しなければならない。それには、手に余るほどの新技術をふるいにかけて最適のものを見つけ出し、選択された複数の新技術が必ずや的確に統合されるように努める必要がある。
- 最先端の科学を利用し無駄を省くために、企業は学界、政府・非政府機関、ほかにライフサイエンス企業、および規制当局、患者グループなど、そのほか関係者と協力していかなければならないだろう。
- 企業はパイプラインの次の段階に進める候補物質について、より厳しく峻別していく必要があり、大きな損失を被る前に役に立ちそうもない候補品は捨て去る勇気を持たなければならないだろう。
- 企業は自社が常に倫理的に活動し、他社が協力したいと思えるような組織であるように努める必要がある。このことはすなわち、規制遵守をビジネス上のコストとしてとらえるのではなく、オープンで正直であることを是とすることを意味する。
- 企業は自社のカルチャーを、イノベーションの創出を奨励し、21世紀の患者、医療費支払者、医療サービス提供者のニーズに応えるカルチャーへと変革する必要がある。

実際、どのような溝からでも、道が見えさえすれば必ず抜け出す経路がある。それは困難かもしれない。障害物が散在し予測しなかった分かれ道があり、難しい決定が必要かもしれない。しかし、この旅で生き残った企業は大きな利益を得ることとなり、次の10年間に、現在人類を悩ます最も深刻な疾患の一部を治癒可能にするような薬剤の開発を始めるための科学技術の殿堂を手に入れていることだろう。

参考文献

1. US National Human Genome Research Institute, 'DNA Sequencing Costs' (21 May 2012), http://www.genome.gov/sequencingcosts/. All subsequent references are to US dollars.

2. Matthew Herper, 'Biotech Firms Battle Over Same Day Genomes', Forbes (10 January 2012), http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2012/01/10/biotech-firms-battle-over-same-day-genomes/

3. Bill Drummy, 'What is Big Data and How Do We Use It?', Pharmaceutical Executive (18 July 2012), http://www.pharmexec.com/pharmexec/article/articleDetail.jsp?id=781853; Ayushman Baruah, 'Big Data stocks up terabytes of opportunities', InformationWeek (26 December 2012), http://m.informationweek.in/Storage/11-12-26/Big_Data_stocks_up_terabytes_of_opportunities.aspx; David Smith, '5 real-world uses of big data', GIGAOM (17 July 2011), http://gigaom.com/cloud/5-real-world-uses-of-big-data/; Peter Mansell, 'Sanofi plumbs real-world evidence with Medco tie-up', PharmaTimes (23 June 2011), http://www.pharmatimes.com/article/11-06-23/Sanofi_plumbs_real-world_evidence_with_Medco_tie-up.aspx

4. Steve Connor, 'Genetic test could pave the way for breast cancer "magic bullets"', The Independent (19 April 2012), http://www.independent.co.uk/news/science/genetic-test-could-pave-the-way-for-breast-cancer-magic-bullets-7658168.html

5. American Cancer Society, 'Cancer Facts & Figures 2012' (2012), p. 11.

6. Ron Winslow and Jennifer Corbett Dooren, 'Gene Work Yields New Treatment For Lupus', The Wall Street Journal (10 March 2011), http://online.wsj.com/article/SB10001424052748703453804576191024114240558.html

7. Kevin Grogan, 'Osiris GvHD therapy is world's first approved stem cell drug', PharmaTimes (21 May 2012), http://www.pharmatimes.com/Article/12-05-21/Osiris_GvHD_therapy_is_world_s_first_approved_stem_cell_drug.aspx

8. Albert-László Barabási, Natali Gulbahce and Joseph Loscalzo, 'Network Medicine: A Network-based Approach to Human Disease', Nature Review Genetics, Vol. 12 , Issue 1 (January 2011), pp. 56-68.

9. Business Monitor International.

10. Ibid.

11. Population Division of the Department of Economic and Social Affairs of the United Nations Secretariat, World Population Prospects: The 2010 Revision, http://esa.un.org/unpd/wpp/index.htm

12. World Health Organisation, Global status report on noncommunicable diseases 2010 (April 2011), p. 18.

13. World Health Organisation, Preventing chronic disease: a vital investment (2005), pp. 54-64.

14. Population Division of the Department of Economic and Social Affairs of the United Nations Secretariat, op. cit.

15. Alzheimer's Disease International, 'The Prevalence of Dementia Worldwide' (December 2008).

16. World Health Organisation, Global status report on noncommunicable diseases 2010 (April 2011), p. 9.

17. US Centers for Disease Control and Prevention, 'Pertussis: Surveillance and Reporting' (8 September 2011), http://www.cdc.gov/pertussis/surv-reporting.html

18. Virginia Resende, 'Health Market Highlights: Brazil', Center for Health Market Innovations (26 September 2011), http://healthmarketinnovations.org/blog/2011/sep/26/health-market-highlights-brazil

19. Noam N. Levey, 'Global push to guarantee health coverage leaves U.S. behind', Los Angeles Times (12 May 2012), http://articles.latimes.com/2012/may/12/nation/la-na-global-health-reform-20120512

20. National Rural Health Mission website, http://mohfw.nic.in/NRHM.htm

21. World Trade Organisation, 'International trade and tariff data' from database on website.

22. Joseph A. DiMasi, 'Costs and Returns for New Drug Development', FTC Roundtable on the Pharmaceutical Industry (Washington DC, United States: 20 October 2006), http://www.ftc.gov/be/workshops/pharmaceutical/DiMasi.pdf; and Joseph A. DiMasi & Henry G. Grabowski, 'The Cost of Biopharmaceutical R&D: Is Biotech Different?' Managerial and Decision Economics, Vol. 28 (2007), pp. 469-479.

23. See, for example, Donald W. Light & Rebecca Warburton, 'Demythologizing the high costs of pharmaceutical research', BioSocieties, Vol. 6 (February 7, 2011), pp. 34-50; and Matthew Herper, 'The Truly Staggering Cost Of Inventing New Drugs', Forbes (10 February 2012), http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2012/02/10/the-truly-staggering-cost-of-inventing-new-drugs

24. European Medicines Agency, 'Regulatory action to safeguard public health', (2012).

25. US Food and Drug Administration, '"Mini-Sentinel," FDA's New Tool for Monitoring the Safety of FDA-Approved Medical Products' (18 April 2012), http://fdatransparencyblog.fda.gov/2012/04/18/fda-basics-webinar-mini-sentinel-fdas-new-tool-for-monitoring-the-safety-of-fda-approved-medical-products/

26. Sten Stovall, 'Europe's Drug Regulator Says Innovation Must Pick Up', The Wall Street Journal (15 December 2010).

27. PwC, 'Pharma 2020: Taxing times ahead' (2009).

28. Ed Silverman, 'Russia's Putin Does A Spot Check on Drug Prices', Pharmalot (19 April 2010), http://www.pharmalot.com/2010/04/russias-putin-does-a-spot-check-on-drug-prices/

29. Lynne Taylor, 'India plans to price-control 60% of pharma market', PharmaTimes (1 November 2011), http://www.pharmatimes.com/article/11-11-01/India_plans_to_price-control_60_of_pharma_market.aspx

30. 'Turkey issues new unilateral Health Application Announcement', The PharmaLetter (13 November 2011), http://www.thepharmaletter.com/file/108772/turkey-issues-new-unilateral-health-application-announcement.html

31. Public Citizen, 'Pharmaceutical Industry Criminal and Civil Penalties: An Update' (27 September 2012), http://www.citizen.org/hrg2073

32. PwC research.

33. Aleksander Vasovic and Ben Hirschler, 'Special Report: A prescription for corruption', Reuters (28 February 2012), http://www.reuters.com/article/2012/02/28/us-pharma-corruption-idUSTRE81R0S720120228

34. The US Centers for Disease Control and Prevention reports, for example, that the national prevalence of diabetes increased by as much as 144% between 1980 and 2009. For further information, see 'Diabetes data and trends: number and percentage of U.S. population with diagnosed diabetes', http://www.cdc.gov/diabetes/statistics/prevalence_national.htm.

35. US National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases, 'National Diabetes Statistics, 2011', http://diabetes.niddk.nih.gov/dm/pubs/statistics/#fast

36. American Diabetes Association, 'The Cost of Diabetes', http://www.diabetes.org/advocate/resources/cost-of-diabetes.html

37. International Diabetes Foundation press release, 'One adult in ten will have diabetes by 2030' (14 November 2011), http://www.idf.org/media-events/press-releases/2011/diabetes-atlas-5th-edition

38. PwC Health Research Institute, 'Social media "likes" healthcare: From marketing to social business' (April 2012), p. 11.

39. Estimate provided by a senior executive at a leading health insurance company.

40. Congressional Budget Office, 'Estimates for the Insurance Coverage Provisions of the Affordable Care Act Updated for the Recent Supreme Court Decision' (July 2012).

41. The Affordable Care Act also establishes a regulatory pathway for approving biosimilars, but losses from biosimilar substitution are a subset of losses from patent expiries, which we covered in chapter 1. For further information, please see PwC Health Research Institute, 'Implications of the US Supreme Court ruling on healthcare' (June 2012, updated August 2012), p. 6.

42. Jon Blum, Center for Medicare and Medicaid Services Deputy Administrator, 'CMS Expects to Double the Number of ACOs This Year', (7 June 2012), accessed via Politico Pro: https://www.politicopro.com/healthcare/whiteboard/?wbid=7185

43. PwC Health Research Institute, 'Unleashing value: The changing payment landscape for the US pharmaceutical industry' (May 2012), http://www.pwc.com/us/en/health-industries/publications/pharma-reimbursement-value.jhtml

44. Peter Mansell, 'Pharma market access in Germany', eyeforpharma (11 June 2012), http://social.eyeforpharma.com/market-access/pharma-market-access-germany

45. Michael Drummond, 'The Move to Value-Based Pricing for Prescription Drugs', Xconomy (21 December 2011), http://www.xconomy.com/national/2011/12/21/the-move-to-value-based-pricing-for-prescription-drugs/2/

46. Don Husereau and Chris G. Cameron, 'Value-Based Pricing of Pharmaceuticals in Canada: Opportunities to Expand the Role of Health Technology Assessment?', CHSRF Series of Reports on Cost Drivers and Health System Efficiency: Paper 5 (December 2011), http://www.chsrf.ca/publicationsandresources/ResearchReports/ArticleView/11-12-16/8eeaf655-b2b6-4c39-a909-6854acfea850.aspx

47. Ian Haydock, 'The labyrinth beckons: Japan debates pricing reforms', Scrip 100 (2012), p. 113.

48. Goddard Health, 'March 9, 2012 (Friday) - Japan Healthcare News Brief (12-01)', http://www.goddardhealth.com/News/120309.html

49. Daniel Poppy, 'Japan Considers Health Technology Assessments; Ponders Pharma Incentives', PharmaAsia News (4 April 2012), http://www.elsevierbi.com/publications/pharmasia-news/2012/4/4/japan-considers-health-technology-assessments-ponders-pharma-incentives

50. Austrian Federal Ministry of Health, 'Rational Use of Medicines in Europe' (February 2010), p. 10.

51. IMS Institute for Healthcare Informatics, 'The Global Use of Medicines: Outlook Through 2016' (July 2012).

52. EvaluatePharma.

53. In the US the definition of a rare disease is one that affects fewer than 200,000 individuals. In the EU, it is a disease that affects fewer than 5 in 10,000 people. For further information, see Irena Melnikova, 'Rare diseases and orphan drugs', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 11 (April 2012), pp. 267-268, http://www.nature.com/nrd/journal/v11/n4/full/nrd3654.html#f2

54. UK National Institute of Health and Clinical Excellence, 'Commissioning biologic drugs for the treatment of inflammatory disease in rheumatology, dermatology and gastroenterology' (2 March 2012), http://www.nice.org.uk/usingguidance/commissioningguides/biologicaltherapies/CommissioningBiologicDrugs.jsp#X-201011251436355

55. PwC Health Research Institute, 'The price of excess: Identifying waste in healthcare spending' (2010).

56. Amy Maxmen, 'Digital pills make their way to market', Nature News Blog (30 July 2012), http://blogs.nature.com/news/2012/07/digital-pills-make-their-way-to-market.html; Dave Chase, 'Prescribable Mobile Apps Huge Threat for Pharma', Forbes (14 May 2012), http://www.forbes.com/sites/davechase/2012/05/14/prescribable-mobile-apps-huge-threat-for-pharma/; David Shaywitz, 'Pills Still Matter; So Does Biology -- Managing Expectations About Digital Health', Forbes, 14 May 2012, http://www.forbes.com/sites/davidshaywitz/2012/05/14/pills-still-matter-so-does-biology-managing-expectations-about-digital-health/; "Adam checks out Wii physiotherapy for kids". BBC News (9 February 2009); ReMission website, http://www.re-mission.net/; Jude Garvey, 'Bayer's Didget makes childsplay of blood glucose monitoring', Gizmag (29 April 2010), http://www.gizmag.com/bayer-didget-blood-glucose-monitoring/14933/

57. PwC, 'Owning the disease: A new transformational business model for healthcare' (2011), http://www.pwc.com/us/en/health-industries/publications/owning-the-disease.jhtml

58. Pfizer press release, 'Pfizer Launches New Pharmacy-Based Vascular Health Check Service' (7 June 2010), http://www.vascularhealthcheck.com/z_aux/z_assets/press/news/Pfizer-Vascular-Health-Check-Press-Release-7-june-2010.pdf

59. Peter Mansell, 'GSK, MedTrust launch iPhone/iPad app for cancer trials', PharmaTimes (8 June 2010), http://www.pharmatimes.com/Article/10-06-08/GSK_MedTrust_launch_iPhone_iPad_app_for_cancer_trials.aspx

60. Dominic Tyer, 'Boehringer pilots digital health management in diabetes', PMLive Intelligence Online (12 July 2012), http://www.pmlive.com/digital_intelligence_blog/archive/2012/jul_2012/boehringer_healthrageous_digital_health_management_type_2_diabetes

61. PwC Health Research Institute, 'Unleashing value', op. cit.

62. Hospital Consumer Assessment of Healthcare Providers and Services, 'HCHAPS Fact Sheet' (May 2012), http://www.hcahpsonline.org/files/HCAHPS%20Fact%20Sheet%20May%202012.pdf

63. Nuala Moran, 'Incyte comes of age with JAK inhibitor approval', Nature Biotechnology, Vol. 30 (January 2012), pp. 3-5, http://www.nature.com/nbt/journal/v30/n1/full/nbt0112-3.html?WT.ec_id=NBT-201201

64. Joanna Brenner, 'Social Networking (full detail)', Pew Internet (31 May 2012), http://pewinternet.org/Commentary/2012/March/Pew-Internet-Social-Networking-full-detail.aspx

65. PwC Health Research Institute, 'Old data learns new tricks: Managing patient privacy and security on a new data-sharing playground' (September 2011), http://www.pwc.com/us/en/health-industries/publications/old-data-learns-new-tricks.jhtml

66. Daniel B. Moskowitz, 'DA panel: Standardised diagnostic tests needed for molecular indications', Scrip (23 March 2010), http://www.scripintelligence.com/home/FDA-panel-Standardised-diagnostic-tests-needed-for-molecular-indications-218973

67. Tracy Staton, 'NICE on BMS's Yervoy: The cost is too darn high', FiercePharma (14 October 2011), http://www.fiercepharma.com/story/nice-bmss-yervoy-cost-too-darn-high/2011-10-14#ixzz1y9KzeQR7

68. Total expenditure on pharmaceuticals and other medical non-durables expressed as a percentage of total healthcare expenditure ranges from 11.8% in the UK to 20.8% in Japan. On average, it's 15.3% in the six countries on which we're focusing here. For further information, see OECD Health Data 2012.

69. European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, 'Letter from EFPIA President, Sir Andrew Witty, to European Heads of States and Governments' (20 June 2012), http://www.efpia.eu/news/letter-efpia-president-sir-andrew-witty-european-heads-states-and-governments

70. International Monetary Fund, 'Portugal: Fourth Review Under the Extended Arrangement and Request for a Waiver of Applicability of End-June Performance Criteria - Staff Report'; Press Release on the Executive Board Discussion; and Statement by the Executive Director for Portugal', Country Report No. 12/179 (July 2012), http://www.imf.org/external/pubs/ft/scr/2012/cr12179.pdf

71. Business Monitor International, 'Greece Pharmaceuticals and Healthcare Report Q2 2012' (10 April 2012), http://www.marketresearch.com/Business-Monitor-International-v304/Greece-Pharmaceuticals-Healthcare-Q2-7011301/

72. IHS, 'Italian Liberalisation Law Passes Final Hurdle; Pharmacies Plan Strikes, Warn of Thousands of Closures' (23 March 2012), http://www.ihs.com/products/global-insight/industry-economic-report.aspx?id=1065966283

73. Paul Cullen, 'Bill promotes use of cheaper generic drugs by doctors', The Irish Times (16 July 2012), http://www.irishtimes.com/newspaper/ireland/2012/0716/1224320204390.html

74. Ben Hirschler, 'Pharma's unpaid European debts approaching $20 bln', Reuters (9 February 2012), http://www.reuters.com/article/2012/02/09/pharmaceuticals-europe-idUSL5E8D99IY20120209

75. Ryan MacBride, 'Greece making drugmakers cover overspending on meds', FiercePharma (5 March 2012), http://www.fiercepharma.com/story/greece-making-drugmakers-cover-overspending-meds/2012-03-05#ixzz214CUSV7Q

76. Brendan Melck, 'Eurozone Debt Crisis Continues to Impact the Pharmaceutical Industry', IHS Healthcare and Pharma Blog (30 January 2012), http://healthcare.blogs.ihs.com/2012/01/30/eurozone-debt-crisis-impacts-pharmaceutical-industry/

77. Clare Kane, 'Spain coughs up billions to keep regions in medicine', Reuters (8 June 2012), http://www.reuters.com/article/2012/06/08/us-spain-government-pharmaceuticals-idUSBRE85712O20120608

78. 'Sanità, slitta al 15 novembre termine sigla Patto salute', Adnkronos Salute (27 July 2012), http://www.adnkronos.com/IGN/Daily_Life/Benessere/Sanita-slitta-al-15-novembre-termine-sigla-Patto-salute_313546234757.html

79. Gazzetta Ufficiale n. 189 del 14 agosto2012, 'Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95, recante disposizioni urgenti per la revision della spesa pubblica con invarianza dei servizi ai cittadini' (14 August 2012), http://www.gazzettaufficiale.it/guridb/dispatcher?service=1&datagu=2012-08-14&task=dettaglio&numgu=189&redaz=012G0157&tmstp=1345473534982

80. Gazzetta Ufficiale n. 156 del 6 luglio 2012, 'Decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95. Disposizioni urgenti per la revisione della spesa pubblica con invarianza dei servizi ai cittadini' (6 July 2012), http://www.governo.it/backoffice/allegati/68648-7830.pdf

81. Boletín Oficial del Estado, núm. 197 de 17 de agosto de 2012, 'Resolución de 2 de agosto de 2012, de la Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, por la que se procede a la actualización de la lista de medicamentos que quedan excluidos de la prestación farmacéutica en el Sistema Nacional de Salud' (2 August 2012), http://www.boe.es/diario_boe/txt.php?id=BOE-A-2012-10952

82. Lynne Taylor, 'Spain to charge seniors for drugs', PharmaTimes (25 April 2012), http://www.pharmatimes.com/Article/12-04-25/Spain_to_charge_seniors_for_drugs.aspx

83. The European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, 'The Pharmaceutical Industry in Figures, 2011 Update', p. 2.

84. European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, 'Letter from EFPIA President, Sir Andrew Witty, to European Heads of States and Governments' (20 June 2012), http://www.efpia.eu/news/letter-efpia-president-sir-andrew-witty-european-heads-states-and-governments

85. Tracy Staton, 'EU antitrust officials probe parallel trade', FiercePharma (24 May 2012), http://www.fiercepharma.com/story/eu-antitrust-officials-probe-parallel-trade/2012-05-24

86. PwC, 'The World in 2050' (2011 update). GDP figures are quoted at 2009 prices.

87. Goldman Sachs, 'The Power of the Purse: Gender Equality and Middle-Class Spending' (5 August 2009).

88. Government of Brazil press release, 'Brazilian Government Extends Payroll Tax Exemptions to 40 Industrial Sectors' (14 September 2012), http://www.brasil.gov.br/para/press/press-releases/september-2012/brazilian-government-extends-payroll-tax-exemptions-to-40-industrial-sectors/view

89. Kenneth Rapoza, 'Weak Economy Pushes Brazil To Protectionism', Forbes (5 September 2012), http://www.forbes.com/sites/kenrapoza/2012/09/05/weak-economy-pushes-brazil-to-protectionism/

90. Krista Hughes and Carlos Ocampo, 'RPT-Mexico needs to raise taxes by at least 6 pct of GDP-tax expert', Reuters (13 September 2012), http://www.reuters.com/article/2012/09/13/mexico-taxes-idUSL1E8KDFIU20120913

91. 'Healthcare in China: The Overhaul that Underwhelmed', International Insurance News (25 July 2012), http://www.globalsurance.com/blog/healthcare-in-china-the-overhaul-that-underwhelmed-541320.html

92. 'Roche Bets On Innovation To Tap China Growth', Dow Jones Deutschland (5 May 2010), http://www.dowjones.de/site/2010/05/interview-roche-bets-on-innovation-to-tap-china-growth.html

93. Rachel Cooper, 'GlaxoSmithKline chief Andrew Witty an "extreme bull" on emerging markets', The Telegraph (27 October 2011), http://www.telegraph.co.uk/finance/newsbysector/pharmaceuticalsandchemicals/8851599/GlaxoSmithKline-chief-Andrew-Witty-an-extreme-bull-on-emerging-markets.html

94. J. K. Wall, 'Emerging markets give Lilly hope in patent crunch', IBJ.com (19 February 2011), http://www.ibj.com/lilly-sees-hope-in-emerging-markets-outside-us/PARAMS/article/25407

95. Toni Clarke, 'Sanofi bets on emerging markets', Reuters (9 May 2011), http://www.reuters.com/article/2011/05/09/us-summit-sanofi-idUSTRE7484MS20110509

96. Mike Ward, 'Merck tailors emerging markets strategies', Scrip Asia 100 (2011), p. 14.

97. Jeff Glekin, 'Breakingviews: Big pharma needs new compact with emerging markets', Reuters (13 March 2012), http://in.reuters.com/article/2012/03/13/india-bayer-natco-nexavar-reddys-cipla-idINDEE82C08F20120313

98. Kaustubh Kulkarni and Ben Hirschler, 'Showdown for Big Pharma in Supreme Court', Reuters (20 August 2012), http://in.reuters.com/article/2012/08/20/novartis-india-cancer-drug-glivec-idINDEE87J00D20120820

99. Julia Kollewe, 'Roche to offer discounted cancer drugs in India', The Guardian (23 March 2012), http://www.guardian.co.uk/business/2012/mar/23/roche-discounted-cancer-drugs-india

100. Tan Ee Lyn, 'China changes patent law in fight for cheaper drugs', Reuters (8 June 2012), http://www.reuters.com/article/2012/06/08/us-china-medicines-patents-idUSBRE8570TY20120608

101. Elena Berton, 'Sanofi strong in emerging markets as rivals flag', Reuters (27 April 2012), http://www.reuters.com/article/2012/04/27/us-sanofi-idUSBRE83Q09V20120427

102. John Hagel and John Seely Brown, 'Learning from Tata's Nano', Bloomberg Businessweek (27 February 2008), http://www.businessweek.com/innovate/content/feb2008/id20080227_377233.htm

103. 'Manufacturing in a Two-speed World', Knowledge@Wharton (10 February 2011), http://knowledge.wharton.upenn.edu/article.cfm?articleid=2682

104. Geeta Anand, 'The Henry Ford of Heart Surgery', The Wall Street Journal (25 November 2009), http://online.wsj.com/ article/NA_WSJ_PUB:SB125875892887958111.html

105. 'Squeezing out the doctor', The Economist (2 June 2012), http://www.economist.com/node/21556227

106. Claire Ward, 'The Cola Road, Week 1: How Coke crates could save lives', Macleans (2 August 2012), http://www2.macleans.ca/2012/08/02/the-cola-road-week-1-how-coke-crates-could-save-lives/

107. Maggie Shiels, 'A chat with the man behind mobiles', BBC News (21 April 2003), http://news.bbc.co.uk/1/hi/uk/2963619.stm

108. mobiThinking, 'Global mobile statistics 2012 Part A: Mobile subscribers; handset market share; mobile operators' (June 2012), http://mobithinking.com/mobile-marketing-tools/latest-mobile-stats/a#subscribers

109. Aldrin Calimlim, 'Highly Rated Medical App iTriage Gets Universal Treatment', AppAdvice (16 June 2012), http://appadvice.com/appnn/2012/06/highly-rated-medical-app-itriage-gets-universal-treatment; CommCare website, http://www.commcarehq.org/home/; PwC, 'Emerging mHealth: Paths for Growth' (2012); Michael MacRae, 'The Robo-Doctor Will See You Now', American Society of Mechanical Engineers (May 2012), http://www.asme.org/kb/news---articles/articles/robotics/robo-doctor-will-see-you-now/; Aeron Azerad, 'Robot Successfully Completes Unassisted Heart Surgery', Digital Lifestyle Magazine (19 May 2006), http://web.archive.org/web/20060820022121/http://www.dlmag.com/1653/robot-successfully-completes-unassisted-heart-surgery.html

110. Ovum, 'Other operators find M-Pesa's success hard to replicate' (7 June 2011), http://ovum.com/2011/06/07/other-operators-find-m-pesas-success-hard-to-replicate/

111. World Health Organisation, mHealth: New horizons for health through mobile technologies (2011), pp. 30-31, 36-37 and 48-49.

112. Jingzong Qi, Qingli Wang, et al., 'Innovative drug R&D in China', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (May 2011), pp. 333-334.

113. EvaluatePharma, 'World Preview 2016' (June 2011) and 'World Preview 2018' (June 2012).

114. Ibid.

115. Jonathan D. Rockoff, 'Pfizer, Merck Take Different R&D Tacks', The Wall Street Journal (4 February 2011), http://online.wsj.com/article/SB10001424052748703652104576122433479575072.html

116. Ed Silverman, 'Sanofi CEO: Who Needs Big Pharma Scientists', Pharmalot (1 March 2012), http://www.pharmalot.com/2012/03/sanofi-ceo-who-needs-big-pharma-scientists/

117. 'AstraZeneca - The Biggest R&D Spenders In Biopharma', FierceBiotech (2012), http://www.fiercebiotech.com/special-reports/biggest-rd-spenders-biopharma/astrazeneca-biggest-rd-spenders-biopharma

118. Burrill & Co., 'Biotech 2012: Innovating in the New Austerity' (2012).

119. Ibid

120. Matthew Herper, 'Amputation May Improve Abbott's Prognosis, Forbes (19 October 2011), http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2011/10/19/abbott-ditches-its-drug-business/

121. Kevin Grogan, 'Pfizer to sell stake in new animal health business Zoetis', PharmaTimes (8 June 2012), http://www.pharmatimes.com/article/12-06-08/Pfizer_to_sell_stake_in_new_animal_health_business_Zoetis.aspx

122. Ted Agres, 'Pipelines Under Pressure Take New Paths', Drug Discovery and Development (15 May 2012), http://www.dddmag.com/articles/2012/05/pipelines-under-pressure-take-new-paths

123. Food and Drug Administration, 'Original New Drug Approvals (NDAs and BLAs) by Month', http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Reports.ReportsMenu

124. Center for Drug Evaluation and Research, '2011 Novel New Drugs' (January 2012), http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm285554.htm

125. Eleanor Malone, 'Kill, kill, kill! The worrying mortality of pharma pipelines', SCRIP Intelligence (18 September 2012), http://www.scripintelligence.com/home/Kill-kill-kill-The-worrying-mortality-of-pharma-pipelines-335166

126. Sharon Begley, 'In cancer science, many "discoveries" don't hold up', Reuters (28 March 2012), http://www.reuters.com/article/2012/03/28/us-science-cancer-idUSBRE82R12P20120328

127. A. W. van Kuijk, C. E. Vergunst et al., 'CCR5 blockade in rheumatoid arthritis: a randomised, double-blind, placebo-controlled clinical trial', Annals of the Rheumatic Diseases, Vol. 69, No. 11 (November 2010), pp. 2013-16.

128. 'Maraviroc in Rheumatoid Arthritis', ClinicalTrials.gov, http://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00427934?term=NCT00427934&rank=1

129. L. A. Hindorff, J. MacArthur et al., 'A Catalog of Published Genome-Wide Association Studies', US National Human Genome Research Institute, www.genome.gov/gwastudies

130. 'Merck's $800M bet on Sir Austin Bradford Hill', Drug Baron blog (23 January 2012), http://www.tcpinnovations.com/drugbaron/?p=203

131. Ibid.

132. Benjamin F. Voight, Gina M. Peloso et al., 'Plasma HDL cholesterol and risk of myocardial infarction: a mendelian randomisation study', The Lancet, Early Online Publication (17 May 2012), http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736%2812%2960312-2/fulltext

133. Tufts Center for the Study of Drug Development, 'Personalized Medicine Is Playing a Growing Role in Development Pipelines', Impact Report, Vol. 12, No. 6 (November/December 2010), p. 6.

134. Gina Kolata, 'Bits of Mystery DNA, Far From "Junk," Play Crucial Role', The New York Times (5 September 2012), http://www.nytimes.com/2012/09/06/science/far-from-junk-dna-dark-matter-proves-crucial-to-health.html?pagewanted=all

135. Elisabeth Fischer, 'Opening up the NHS: real-world patient data in the hands of Big Pharma', pharmaceutical-technology.com (30 May 2012), http://www.pharmaceutical-technology.com/features/featurenhs-opening-up-real-world-patient-data-pharmaceutical-private-companies/

136. Ryan McBride, '23andMe bets on patient-driven research with CureTogether buyout', FiercePharma (10 July 2012), http://www.fiercebiotechit.com/story/23andme-bets-patient-driven-research-curetogether-buyout/2012-07-10#ixzz22fRdGBEi; Ruth Saunders, 'Personal genomics company 23andMe awarded Parkinson's disease patent', BioNews (6 June 2012), http://www.bionews.org.uk/page_148506.asp

137. Alice G. Walton, 'Clues To Autism: Genetic Mutations And The Age Of The Father', Forbes (6 April 2012), http://www.forbes.com/sites/alicegwalton/2012/04/06/clues-to-autism-genetic-mutations-and-the-age-of-the-father/

138. InnoCentive website, http://www.innocentive.com/about-innocentive; Kaggle website, http://www.kaggle.com/about; Luke Timmerman, 'Sage Bionetworks Moves from Thinking Stage to Doing Stage', Xconomy (18 April 2012), http://www.xconomy.com/san-francisco/2012/04/18/sage-bionetworks-moves-from-thinking-stage-to-doing-stage/; Donna Young, 'NIH-industry venture taps "crowdsourcing" for teaching old drugs new tricks', SCRIP Intelligence (4 May 2012), http://www.scripintelligence.com/home/NIH-industry-venture-taps-crowdsourcing-for-teaching-old-drugs-new-tricks-330136; Executive Office of the President, President's Council of Advisors on Science and Technology, Report to the President on Propelling Innovation in Discovery, Development, and Evaluation (September 2012), pp. 53-58.

139. International Serious Adverse Events Consortium website, http://www.saeconsortium.org/

140. Shannon Fisher, 'Big Pharma + Big Pharma = Collaborative Fight to Cancer', PharmaShare (April 2012), http://www.pharma-share.com/big-pharma-big-pharma-collaborative-approach-fight-cancer

141. 'Ten Pharmaceutical Companies Unite to Accelerate Development of New Medicines', PR Newswire (19 September 2012), http://www.prnewswire.com/news-releases/ten-pharmaceutical-companies-unite-to-accelerate-development-of-new-medicines-170329346.html

142. European Medicines Agency, 'Guideline On Clinical Trials In Small Populations' (27 July 2006), pp. 8-9.

143. Larry Husten, 'The Rivaroxaban FDA Panel and Large Pragmatic Trials', Forbes (9 September 2011), http://www.forbes.com/sites/larryhusten/2011/09/09/the-rivaroxaban-fda-panel-and-large-pragmatic-trials/?partner=yahootix; Michael O' Riordan, 'DA approves rivaroxaban for stroke prevention in AF patients', theheart.org (4 November 2011), http://www.theheart.org/article/1304213.do

144. Elizabeth O Lillie, Bradley Patay et al., 'The N-of-1 Clinical Trial: The Ultimate Strategy for Individualizing Medicine?', Personalized Medicine, Vol. 8, No. 2 (March 2011), pp. 161-173, http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3118090/

145. S. Treweek & M. Zwarenstein, 'Making trials matter: pragmatic and explanatory trials and the problem of applicability', Trials, Vol. 10 (3 June 2009), http://www.trialsjournal.com/content/10/1/37

146. Gill Hitchcock, 'Telehealth on mobiles rolling out to thousands of patients in Somerset', The Guardian (3 May 2012), http://www.guardian.co.uk/government-computing-network/2012/may/03/telehealth-mobile-nhs-somerset; Chris Wickham, 'Analysis: Biosensors - the canary in a coalmine worth $13 billion', News Daily (19 July 2012), http://www.newsdaily.com/stories/bre86i16h-us-biosensors/ Chris Vallance, 'Star Trek-style "tricorder" invention offered $10m prize', BBC News (12 January 2012), http://www.bbc.co.uk/news/technology-16518171; Steve Goldstein et al., US patent application no. US 2012/0123573 A1, filed 18 January 2012, published 17 May 2012. For further details of Personics Labs' work, see http://www.personicslabs.com/

147. Steven W. Ryder and Ethan S. Weiner, 'Design of Clinical Development Programs', Principles of Clinical Pharmacology, Third Edition (Elsevier, 2012), pp. 571-595.

148. S. Schneeweiss, J.J. Gagne et al., 'Assessing the Comparative Effectiveness of Newly Marketed Medications: Methodological Challenges and Implications for Drug Development', Clinical Pharmacology & Therapeutics, Vol. 90, No. 6 (December 2011), pp. 777-790.

149. Martin F. Bachmann and Mark R. Dyer, 'Therapeutic vaccination for chronic diseases: a new class of drugs in sight', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 3 (January 2004), pp. 81-88.

150. Bill Gates, 'Speech to the Sixty-fourth World Health Assembly' (17 May 2011), http://www.who.int/mediacentre/events/2011/wha64/bill_gates_speech_20110517/en/index.html

151. Philip R. Dormitzer, Jeffrey B. Ulmer and Rino Rappuoli, 'Structure-based antigen design: a strategy for next generation vaccines', Trends in Biotechnology, Vol. 26, Issue 12 (December 2008), pp. 659-67.

152. 'Targeted DNA Vaccine Using an Electric Pulse', ScienceDaily (30 January 2012), http://www.sciencedaily.com/releases/2012/01/120130093649.htm

153. Maryn McKenna, 'Vaccine development: Man vs MRSA', Nature (1 February 2012), http://www.nature.com/news/vaccine-development-man-vs-mrsa-1.9940

154. Prevention Study with Diamyd's Diabetes Vaccine Fully Recruited', BusinessWire (9 January 2012), http://www.businesswire.com/news/home/20120108005091/en/Prevention-Study-Diamyds-Diabetes-Vaccine-Fully-Recruited; Jessica Snyder Sachs, 'There's a Shot for That', Discover magazine (October 2011), http://discovermagazine.com/2011/oct/15-theres-a-shot-for-that/article_view?b_start:int=2&-C=; Suzanne Elvidge, 'Preventing a heart attack is just a shot away?' FierceVaccines (5 April 2012), http://www.fiercevaccines.com/story/preventing-heart-attack-just-shot-away/2012-04-05

155. Richard Gray, '"Universal" cancer vaccine developed', The Telegraph (8 April 2012), http://www.telegraph.co.uk/science/science-news/9191848/Universal-cancer-vaccine-developed.html

156. David Nutt, 'Is the future of drugs safe and non-addictive?' The Guardian (10 June 2012), http://www.guardian.co.uk/science/shortcuts/2012/jun/10/the-future-of-drugs-safe

157. PhRMA, 'Medicines in Development: Vaccines (2012).

158. 'Special report on PENNVAX-B', FiercePharma (15 October 2012), http://www.fiercevaccines.com/special-reports/pennvax-b

159. Anne Trafton, '"Tattoo' may help diabetics track their blood sugar', MIT News (28 May 2010), http://web.mit.edu/newsoffice/2010/glucose-tattoo-0528.html

160. Martin Grolms, 'Fever Responsive Drug Delivery', Materials Views (3 December 2010), http://www.materialsviews.com/fever-responsive-drug-delivery/

161. Artificial Retina Project website, http://artificialretina.energy.gov/about.shtml

162. Neil Bowdler, 'New generation bionics - wireless and touch-sensitive', BBC News (14 March 2012), http://www.bbc.co.uk/news/health-17183888

163. K. Warwick, M. Gasson et al., 'The Application of Implant Technology for Cybernetic Systems', Archives of Neurology, Vol. 60, No. 10 (2003), pp. 1369–1373.

164. Christopher Barnatt, 'Bioprinting', ExplainingTheFuture.com (17 June 2012), http://www.explainingthefuture.com/bioprinting.html

165. 'Clinical trials news: January 2012 update', EuroStemCell (13 January 2012), http://www.eurostemcell.org/story/clinical-trials-news-january-2012-update

166. Sarah Boseley, 'Stem cell scientists take hope from first human trials but see long road ahead', The Guardian (4 June 2012), http://www.guardian.co.uk/science/2012/jun/04/stem-cell-first-human-trials

167. Peter Murray, 'In Medical First Doctors Implant Lab Grown Synthetic Trachea Into Patient', Singularity Hub (9 July 2011), http://singularityhub.com/2011/07/09/in-medical-first-doctors-implant-lab-grown-synthetic-trachea-into-patient/

168. Elizabeth Read, 'Development Considerations for Cell & Tissue Therapies and Gene Therapies'. Lecture delivered at University of California, San Francisco (9 May 2012).

169. Ibid.

170. Alina Tugend, 'Too Many Choices: A Problem That Can Paralyze', The New York Times (26 February 2010), http://www.nytimes.com/2010/02/27/your-money/27shortcuts.html

171. Fabio Pammolli, Laura Magazzini and Massimo Riccaboni, 'The productivity crisis in pharmaceutical R&D', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (June 2011), pp. 428-438; Steven M. Paul, Daniel S. Mytelka et al.,'How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge', Nature Reviews Drug Discovery, Vol.9 (March 2010), pp. 203-214; John Arrowsmith, 'Trial watch: Phase II failures: 2008-2010', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (May 2011), p. 1; John Arrowsmith, 'Trial watch: Phase III and submission failures: 2007-2010', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (February 2011), p. 1; John Arrowsmith, 'A decade of change', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 11 (January 2012), pp. 17-18.

172. John Arrowsmith, 'Trial watch: Phase II failures: 2008-2010', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (May 2011), p. 1.

173. John Arrowsmith, 'Trial watch: Phase III and submission failures: 2007-2010', Nature Reviews Drug Discovery, Vol. 10 (February 2011), p. 1.

174. Ibid.

175. Ben Adams, 'Value destruction: pharma has only itself to blame', InPharm (10 February 2012), http://www.inpharm.com/news/171302/value-destruction-pharma-has-only-itself-blame

176. Lewis Krauskopf, 'Insight: Pharma asks the money question earlier for new drugs', Reuters (December 20, 2011), http://www.reuters.com/article/2011/12/20/us-payors-idUSTRE7BJ1QG20111220

177. Whereas Table 2 includes the total number of molecules the industry majors are currently developing, our comments here are based on the smaller number of compounds to which analysts have assigned an rNPV. These are generally the compounds they regard as the most promising candidates in a company's late-stage pipeline.

178. Bruce Booth, 'Culture as a culprit of the Pharma R&D crisis', Forbes (19 April 2012), http://www.forbes.com/sites/brucebooth/2012/04/19/culture-as-a-culprit-of-the-pharma-rd-crisis/

179. Heidrick & Struggles, 'R&D leadership in crisis: Rebuilding innovation through people' (2011).

180. Patrick R. Dailey, 'Why Leaders Fail', The European Business Review (2012), http://www.europeanbusinessreview.com/?p=4085

181. These figures are based on average tenure in the 578 pharma and biotech companies included in the BoardEx Global Leadership Database, although it should be noted that there are substantial variations between different companies. Industry veteran Miles D. White has, for example, held the position of chairman and chief executive of Abbott Laboratories for more than 13 years.

182. In the following discussion we've drawn on the ideas of Tony Davila, Marc J. Epstein and Robert Shelton. For further details, see Making Innovation Work: How to Manage It, Measure It, and Profit from It (Prentice Hall, New Jersey: 2006).

183. Steve Lohr, 'G.E. Goes With What It Knows: Making Stuff', The New York Times (4 December 2010), http://www.nytimes.com/2010/12/05/business/05ge.html?pagewanted=all

184. 'Seems Awkward, Ignores the Rules, but Brilliant: Meet the Maverick Job Candidate', TimeBusiness (29 August 2012), http://business.time.com/2012/08/29/seems-awkward-ignores-the-rules-but-brilliant-meet-the-maverick-job-candidate/#ixzz26CKApmPC

185. Bernard Munos, 'Can Open-Source Drug R&D Repower Pharmaceutical Innovation?', Clinical Pharmacology & Therapeutics, Vol. 87, No. 5 (May 2010), pp. 534-536.

186. The Pistoia Alliance, 'What are the obstacles to innovation in the pharmaceutical industry?', Drug Discovery World (Summer 2011), http://www.ddw-online.com/business/p149291-what-are-the-obstacles-to-innovation-in-the-pharmaceutical-industrysummer-11.html

主要各国指標

	Projected population in 2020 (millions)		Economic indicators		Personal affluence (% of adults with net worth, 2010)				Public health (% of population with access, 2010)	
	Total	Aged 60+	GDP, 2011 (US$ bn)	Per capita health spending, 2010, US$	Under US$1,000	US$ 1,000–10,000	US$ 10,000–100,000	US$ 100,000+	Clean water	Improved sanitation
North America										
Canada	37.2	9.3	1,737	5,222	10.0	10.3	31.0	48.7	100	100
United States	337.1	75.6	15,094	8,362	3.5	23.8	36.5	36.2	99	100
EU-Big Five										
France	65.9	17.3	2,776	4,691	0.3	10.5	49.4	39.7	100	100
Germany	81.0	24.5	3,577	4,668	13.1	14.6	30.4	41.9	100	100
Italy	61.3	17.9	2,199	3,248	0.0	41.4	41.4	55.5	100	100
Spain	48.7	12.2	1,494	2,883	1.1	18.0	47.9	32.9	100	100
United Kingdom	65.8	16.1	2,418	3,503	0.3	12.2	40.9	46.6	100	100
BRIC economies										
Brazil	210.4	29.6	2,493	990	21.0	41.1	34.1	3.7	98	79
China	1,387.8	241.0	7,298	221	6.8	59.6	31.8	1.8	91	64
India	1,386.9	135.9	1,676	54	42.8	50.1	6.6	0.4	92	34
Russia	141.0	31.2	1,850	525	24.0	51.4	23.5	1.1	97	70
Fast followers										
Argentina	43.9	7.2	448	742	22.0	43.5	32.3	2.2	96+	90
Egypt	94.8	9.6	236	123	18.1	54.1	26.7	1.1	99	95
Indonesia	262.6	28.8	846	77	24.8	53.0	20.3	2.0	82	54
Mexico	125.9	15.4	1,155	604	18.5	41.8	35.8	3.9	96	85
Pakistan	205.4	15.1	211	22	30.8	59.3	9.7	0.2	92	48
Poland	38.4	9.7	514	917	8.3	36.4	50.4	4.9	100	90+
Romania	21.0	5.0	190	428	17.8	50.0	31.1	1.2	84+	72+
South Africa	52.6	5.1	408	649	24.1	42.7	29.6	3.6	91	77
Thailand	72.1	13.2	346	179	34.8	53.7	11.1	0.3	96	96
Turkey	80.8	9.8	778	678	13.8	38.6	43.7	3.9	100	90
Ukraine	43.0	10.0	165	234	42.5	53.4	4.0	0.1	98	N/A
Venezuela	33.3	3.8	316	663	20.0	45.4	32.7	1.9	92+	91+
Vietnam	96.4	12.0	123	83	34.8	55.1	9.9	0.2	95	76
Asia-Pacific										
Australia	25.2	5.6	1,488	4,775	0.3	9.8	31.8	58.2	100	100
Japan	124.8	42.7	5,869	4,065	0.0	6.2	42.7	51.1	100	100
Malaysia	33.0	3.7	279	368	10.7	38.3	46.8	4.3	100	96
New Zealand	4.8	1.1	162	3,279	5.0	22.5	38.7	33.9	100	100
Philippines	109.7	8.6	213	77	34.4	52.2	13.1	0.4	92	74
Saudi Arabia	33.6	2.4	576	680	11.7	37.7	46.1	4.4	N/A	N/A
South Korea	49.8	11.5	1,116	1,439	0.4	7.1	64.6	17.9	98	100
United Arab Emirates	9.2	0.4	360	1,450	0.1	9.8	52.8	37.3	100	98

Sources: United Nations Population Division, International Monetary Fund, World Bank, World Health Organisation, Credit Suisse Global Wealth Databook, UNICEF, Business Monitor International, PwC research

Risk factors (% of population)			Impact of non-communicable diseases (% of deaths)					Market indicators			
Adult smokers	Overweight or obese males aged 15+ (2010)	Overweight or obese females aged 15+ (2010)	All NCDs	CVD	Cancers	Resp. diseases	Diabetes	Pharma sales at constant exchange rates, 2011 (US$ bn)	Pharma sales at constant exchange rates, 2020 (US$ bn)	Generics market share, 2011 (% of total sales)	Generics market share, 2020 (% of total sales)
19.5	66.9	59.5	89	33	30	6	3	26.6	31.1	17.6	23.9
27.0	80.5	76.7	87	35	23	7	3	337.1	424.8	23.7	32.4
29.9	48.0	36.9	87	30	31	4	2	48.7	49.5	13.1	18.1
25.7	67.2	57.1	92	45	26	4	3	55.1	57.6	19.1	28.3
23.0	55.0	40.0	92	41	28	5	4	34.6	29.0	6.7	10.3
29.9	57.9	49.8	91	33	27	9	3	28.0	19.2	7.3	14.7
21.0	67.8	63.8	88	34	27	8	1	38.3	38.6	21.9	26.9
17.2	54.0	60.3	74	33	16	6	5	25.6	57.3	16.0	33.8
28.1	45.0	32.0	83	38	21	15	2	66.9	175.8	64.2	58.7
14.0	20.1	18.1	53	24	6	11	2	15.6	48.8	72.2	72.7
39.1	46.5	51.7	82	62	13	2	0	20.7	45.1	37.0	41.1
27.1	77.7	71.2	80	33	20	10	3	7.6	24.2	9.8	14.1
19.4	64.5	76.0	82	39	11	3	3	3.1	8.4	27.3	36.5
24.2	9.9	27.1	64	30	13	7	3	6.0	12.9	40.0	50.2
15.9	73.6	73.0	78	28	13	6	13	13.0	26.2	12.1	18.1
19.1	22.8	29.5	46	25	7	5	1	2.0	4.5	65.5	63.3
30.3	50.7	44.3	89	48	26	3	2	11.3	16.9	41.6	39.9
32.4	37.7	40.6	91	59	19	3	1	4.2	8.1	22.6	24.7
31.7	41.3	68.5	29	11	7	3	3	3.7	7.7	29.2	38.5
23.7	28.3	39.9	71	27	12	7	6	4.3	7.0	50.9	49
31.2	47.9	65.7	85	49	18	9	2	10.2	19.7	34.3	41.2
28.8	41.2	48.5	86	66	11	2	0	3.4	8.6	49.2	51.5
18.0	74.4	67.3	66	31	15	3	6	5.5	20.9	35.2	50.6
23.8	7.5	12.2	75	40	14	8	3	2.4	7.2	50.0	55.9
16.6	75.7	66.5	90	35	29	6	3	13.3	15.1	13.8	24.8
23.4	29.8	16.2	80	32	31	5	1	127.4	148.7	9.1	19.5
21.5	64.1	42.2	67	32	15	7	2	1.8	3.7	30.0	33.3
19.9	73.9	74.2	91	37	29	7	3	1.1	1.2	17.9	25.1
28.3	22.2	33.6	61	30	10	5	4	2.9	4.1	17.1	34.2
12.5	63.1	65.9	71	42	9	3	6	4.5	9.1	7.7	13.8
27.7	51.5	51.0	82	29	30	5	5	14.8	21.7	31.8	34.1
20.5	66.9	71.6	67	38	12	2	3	1.5	3.1	15.1	18.5

謝辞

本レポートを作成するに当たり助力をいただき、さまざまな情報をご提供いただいた以下のクライアントの皆様、ならびに専門家の方々に心より感謝申し上げます。

Dr Heather Ahlborn, Ph.D., Global Solutions Director, Process Solutions, Merck Millipore

Mr Graeme Bell, VP & Head of Finance U.S Market, Merck & Co., Inc.

Mr Brian Bertha, Chief Business Officer, Crescendo Bioscience, Inc.

Dr Terrence Blaschke, M.D., Professor Emeritus, Stanford University

Prof. Sir Alasdair Breckenridge, CBE, Chairman, Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency

Dr Neill Carman, Ph.D, R&D Director Continuous Improvement, AstraZeneca Plc

Dr Thomas Colett, Ph.D., President and CEO and Director, Meditrina Pharmaceuticals, Inc.

Dr Alex Cross, Ph.D., Principal, NDA Partners LLC

Dr Charles Cutler, M.D., Chief Medical Officer, Complex Care Clinical Programs, Magellan Health Services

Dr Ajit Dangi, Ph.D., President & CEO, Danssen Consulting

Mr James Dishong, Business Operations Leader, Eli Lilly and Company

Mr Aaron Graff, President and COO, Ferring Pharmaceuticals Inc.

Stuart Henderson, Vice-President Strategy & Innovation – Strategy, Portfolio & Performance, R&D, AstraZeneca Plc

Mr Graham Higson, Managing Director, NDA Advisory Services

Mr Ranga Iyer, Chairman CII (WR) Taskforce on Sector Skill Development and Healthcare Consultant & Advisor, India Health Progress

Dr Sally John, Ph.D., Executive Director Human Genetics, Pfizer Inc.

Dr Sneh Khemka, MBChB, Director of Healthcare Development, Bupa International

Mr James Lennertz, Vice President and General Manager, BioMarin Europe, Ltd

Mr Earle Martin, Founder and Partner, NDA Partners LLC

Dr Clare McGrath, Ph.D, Global payer evidence and HTA Policy, AstraZeneca Plc

Dr Marivi Mendizabal, BPharm, MSc, Ph.D, Global Head of Discovery, GE Healthcare, Medical Diagnostics

Prof. Dr Leo Neels, Algemeen Directeur – Directeur général, pharma.be vzw/asbl

Mr Manoj Niranjan, Associate Director Commercial Excellence, Abbott India

Dr Carl Peck, M.D., Founder, Manager, and Chairman, NDA Partners LLC

Mr Matt Portch, Vice-President of Commercial Model Innovation, Pfizer Inc.

Mr Vinay Ranade, Director, Reliance Life Sciences

Mr Tapan Ray, Director General, Organisation of Pharmaceutical Producers of India

Dr David Roblin, BSc, MBBS, FRCP, MFPM, Chief Medical Officer, Creabilis Ltd.

Mr Yury Rozenman, Head of Marketing, Global Sectors, BT Global Services

Dr Steven Ryder, M.D. FACP, President, Astellas Pharma Global Development, Inc.

Dr David Savello, Ph.D., SVP Drug Development, XenoPort Inc.

Mr Ranjit Shahani, President of the Organisation of Pharmaceutical Producers of India and Country President of Novartis Group of Companies in India

Mr A. Vaidheesh, Managing Director, Johnson & Johnson Medical India

Dr Jan Van Emelen. M.D, Director Innovation, Mutualités Libres (Onafhankelijke Ziekenfondsen)

Ms Jo Walton, European Pharmaceuticals Equity Research, Credit Suisse Group AG

Dr Cory Williams, Senior Director, Strategy, Pfizer Inc.

また本誌作成にご協力いただいた以下のPwC内外の多くの方々に、御礼申し上げます。

Dr Steve Arlington (Partner, PwC UK), Joseph D. Palo (President, JD Pharma LLC)
Dr Nicholas Davies (Partner, PwC US), Dr Helen Kay (Director, European Communications Consultancy)
Dr Sally Drayton (Global Pharmaceutical and Life Sciences Knowledge Manager, PwC UK)
Ms Marina Bello Valcarce (Global Pharmaceutical and Life Sciences Marketing and Knowledge Management, PwC UK)
Mr Ian Bremmer, Ms Mary Cline, Mr Larry Cristini, Mr Nigel Greenhill, Mr Scott Rosenstein (Eurasia Group)
PwC review team & PwC's Global Pharmaceutical and Life Sciences teams

本レポートに記述されている意見は個人のものであり、ご協力いただいた方々の所属する各機関、団体、法人などの組織の意見を示すものではございません。

PwC 製薬・医療機器・ライフサイエンス

ファーマ2020　～ビジョンから決断へ～　についてのお問い合わせ先

プライスウォーターハウスクーパース株式会社

朱 英明
パートナー
090-7901-5227
eimei.e.shu@jp.pwc.com

山本 紳也
パートナー
080-1116-9054
shinya.s.yamamoto@jp.pwc.com

詫摩 直也
顧問
080-4959-7701
naoya.takuma@jp.pwc.com

プライスウォーターハウスクーパース　PRTM マネジメントコンサルタンツ　ジャパンLLC

尾崎 正弘
パートナー
090-7192-6491
masahiro.ozaki@us.pwc.com

田畑 萬
パートナー
080-4653-6344
yorozu.tabata@us.pwc.com

仲村 薫
パートナー
090-5510-9449
kaoru.nakamura@us.pwc.com

税理士法人プライスウォーターハウスクーパース

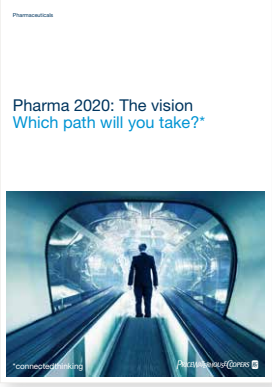
小野寺 美恵
パートナー
03-5251-2791
mie.onodera@jp.pwc.com

あらた監査法人

好田 健祐
代表社員
090-6514-8101
kensuke.k.koda@jp.pwc.com

山田 雅弘
代表社員
090-6512-2628
masahiro.yamada@jp.pwc.com

本シリーズの既刊

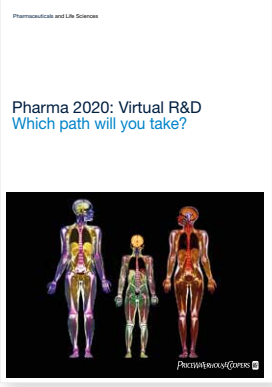


ファーマ2020：ビジョン 岐路に立つ医薬品業界

2007年6月刊行。本資料では、2020年までに医薬品業界に大きく影響すると予想されるさまざまな問題を取り上げた。
また、製薬会社が株主や社会に提供する価値を向上させる潜在的機会を実現するため、最善と目される変化の方向についても概説している。

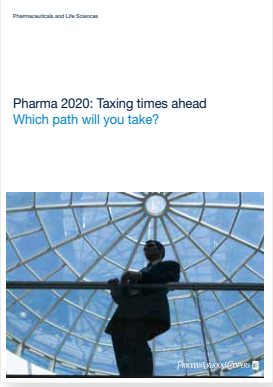
ファーマ2020：マーケティングの未来 岐路に立つ医薬品業界

2009年2月刊行。本資料では、医療費支払者、医療サービス提供者および患者などの影響力の高まりや、21世紀にふさわしいマーケティングおよび営業モデルの創出に求められる変化を始めとする医薬品市場再編の主要な牽引力について説明する。これらの変化を通じて、医薬品業界はよりコスト効率の高い方法で製品のマーケティングおよび販売が可能となり、新たな機会が創出され、医療全体で顧客ロイヤルティの向上が期待できる。



ファーマ2020：バーチャルR&D 岐路に立つ医薬品業界

2008年6月刊行。本資料では、R&Dプロセスの改善機会を追求した。新技術の登場で実現が可能になるバーチャルR&Dについて提唱する。医薬品業界が研究者、政府、医療費支払者および医療サービス提供者などとさらに緊密に連携することにより、刻々と変化する社会の要求により効果的に対応することができる。



ファーマ2020: グローバルタックスの将来課題 岐路に立つ医薬品業界

ファーマ2020シリーズの第5弾として2009年12月刊行。本資料では税務の観点から医薬品業界における機会と課題に焦点を当てている。協働型新規ビジネスモデルの発展とともに、現在の事業環境を形成する政策、経済、科学や社会のトレンドにしたがい、医薬品業界における実効税率に対する圧力がいかに増していくか論じている。また、本資料では製薬会社がアウトカムに基づく医療の提供を支援しながら競争力を維持していくために、どのように自社の税務戦略を対応させることができるか示している。

ファーマ2020：ビジネスモデルの変化と挑戦 岐路に立つ医薬品業界

ファーマ2020シリーズの第4弾として2009年4月刊行。本資料では製薬会社の自社内完全統合型ビジネスモデルが2020年の医薬品業界にとって必ずしも最善の選択肢ではなく、より創造性の高い協働型モデルの方が魅力的であるということを取り上げている。またさまざまなビジネスモデルの長所と短所を評価し、医薬品業界が直面する課題に各ビジネスモデルがどのように対処するのか論じている。

ファーマ2020：サプライチェーンの未来 岐路に立つ医薬品業界

ファーマ2020シリーズの第6弾として2011年2月刊行。本資料では、マーケットを差別化し、売上を生み出す製薬企業はどのように異なったサプライチェーンモデルを開発し、どのようにそのサプライチェーンを使いこなすのか。またどのような情報が製品やサービスにおいてダウンストリームフローをドライブするのか、について論じている。

ダウンロードはこちらから
日本語版：www.pwc.com/jp/ja/japan-knowledge/archive/pharma2020-index.jhtml
英語版：www.pwc.com/pharma2020

PwCは、世界158カ国 におよぶグローバルネットワークに180,000人以上のスタッフを有し、高品質な監査、税務、アドバイザリーサービスの提供を通じて、企業・団体や個人の価値創造を支援しています。詳細はwww.pwc.com をご覧ください。

PwC Japanは、あらた監査法人、京都監査法人、プライスウォーターハウスクーパース株式会社、税理士法人プライスウォーターハウスクーパース、およびそれらの関連会社の総称です。各法人はPwCグローバルネットワークの日本におけるメンバーファーム、またはその指定子会社であり、それぞれ独立した別法人として業務を行っています。

本レポートは、PwC メンバーファームが2012年11月に発行した『From vision to decision - Pharma 2020』を翻訳したものです。
オリジナルはこちらからダウンロードできます。www.pwc.com/gx/en/pharma-life-sciences/pharma2020/vision-to-decision.jhtml
日本語版発刊月： 2013年04月 管理番号： M201212-1

©2013 PwC. All rights reserved.
PwC refers to the PwC Network and/or one or more of its member firms, each of which is a separate legal entity. Please see www.pwc.com/structure for further details.
This content is for general information purposes only, and should not be used as a substitute for consultation with professional advisors.