

抗悪性腫瘍薬開発パイプラインの 世界状況

— 中国の急伸と新規モダリティの拡大、
停滞する日本の開発カー





目次

概要	3
1. 薬剤候補化合物の臨床開発状況	4
臨床開発が行われている薬剤候補化合物の数は増加の一途	4
臨床開発のターゲットとなっている疾患分野は、悪性腫瘍（癌）が圧倒的な第一位	5
2. 悪性腫瘍領域における薬剤開発	6
悪性腫瘍（癌）領域における薬剤開発伸長の背景	6
3. 国別にみた抗悪性腫瘍薬の臨床開発状況	7
2015年を境に中国発の開発が勃興し、米・中の二強になりつつある癌治療薬開発競争	7
中国起源の化合物が激増した背景とその臨床開発の特殊性	9
4. 抗悪性腫瘍薬開発と創薬モダリティ	10
新規モダリティの取り組みが目立つ、悪性腫瘍（癌）領域における創薬研究	10
5. 日本発の抗悪性腫瘍薬開発	11
憂慮される日本の癌治療薬候補（化合物）創出力の凋落	11
日本の停滞の背景と諸外国からの学び	12
6. 終わりに	13
本稿のデータと解析手法	14



概要

- ❖ 世界で臨床開発されている薬剤候補（化合物）の数は、一貫して顕著な増加傾向にある
- ❖ 開発ターゲットとして最多を占める疾患分野は悪性腫瘍（癌）であり、その割合は漸次増加し、現在臨床開発段階にある化合物の4割以上が抗悪性腫瘍薬として開発されている
- ❖ 欧米が長くリードしてきた抗悪性腫瘍薬開発であるが、2015年以降は中国による開発が劇的に活発化し、中国に由来する臨床開発段階にある化合物の数は既に欧州を凌駕し、米国に次ぐ世界第2位となってさらに増加している
- ❖ 日本に由来する化合物の悪性腫瘍分野における臨床開発は過去20年以上にわたって停滞しており、この期間に大きく伸ばした米国・中国・欧州との格差が拡大してシェア低下が顕著となっている
- ❖ 抗悪性腫瘍薬の開発では細胞治療や遺伝子治療に代表される先進的なモダリティが伸長しており、それら「新規モダリティ」に分類される化合物の割合は臨床開発段階にあるものの4分の1、前臨床の約3割に達している
- ❖ 一方で日本発の薬剤候補は現在でも低分子が約6割を占めており、抗体薬および「新規モダリティ」へのシフトが鮮明なグローバルトレンドとは異なっている
- ❖ 今後、抗悪性腫瘍薬開発では米・中2国の競争激化と寡占の行方が注目されるが、ここで日本がいかに貢献と存在感を示していくかが課題と考えられる

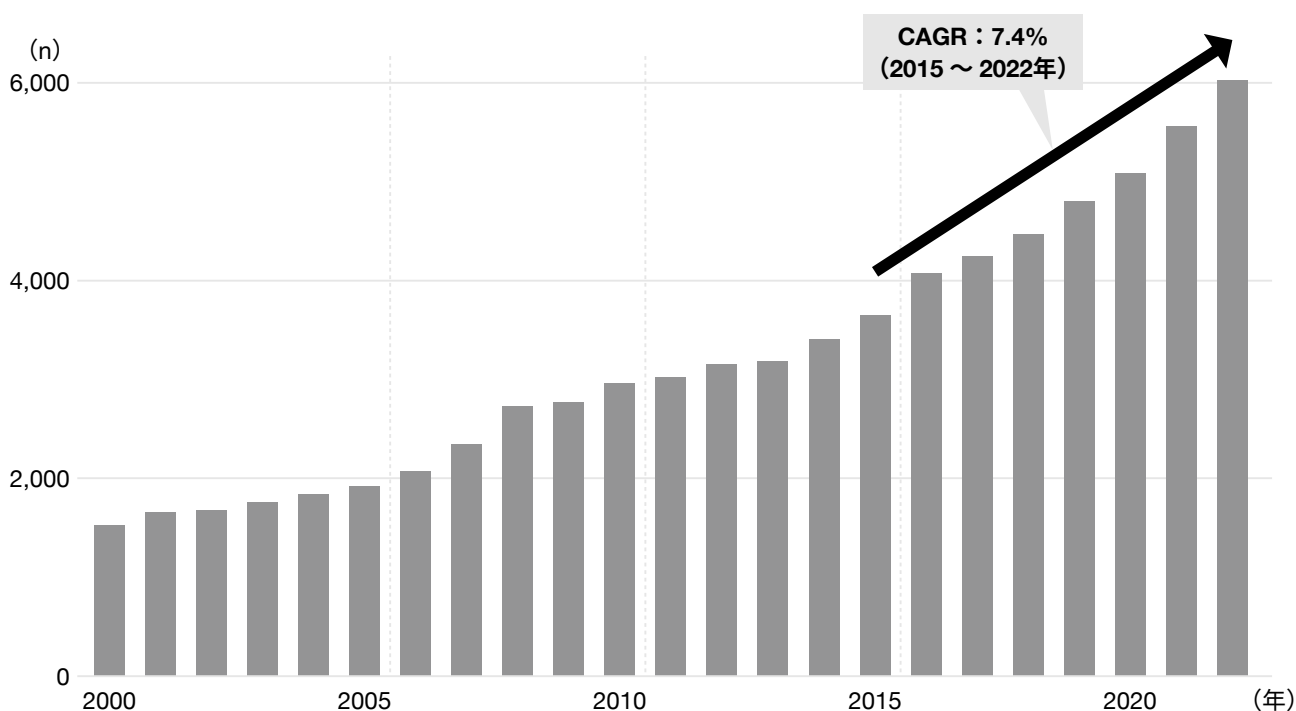
1. 薬剤候補化合物の臨床開発状況

臨床開発が行われている薬剤候補化合物の数は増加の一途

世界で臨床開発段階（ヒトを対象とした臨床試験の始まりである第1相試験の実施から、薬剤としての承認申請まで）にある薬剤候補（化合物）の数は近年顕著に増加しており、そこにみられる化合物の数は2000年以降の約20年間で実に3倍以上に増加、その増加速度は直近さらに加速し、2015年から昨年2022年の期間には年平均7.4%もの増加率を示している（図表1）。この背景には、分子レベルや遺伝子レベルでの疾患メカニズムの解明の進展やバイオマーカーの同定などにより新たな創薬ターゲットが次々出現していることに加えて、創薬技術の進歩によって、それらのターゲットに作用する薬剤候補の発見や合成・最適化などの研

究プロセスが新たに可能になったり迅速化したりしていることなどがあげられる。また、難治性疾患や希少疾患などを中心にこれまで手つかずだった領域での治療開発ニーズが顕在化し、それに呼応するように各国の規制当局は薬剤の開発や承認を合理的に促進するような施策を打ち出している。さらに、先進国を中心とする高齢化や新興国の発展に伴う医療需要の拡大に薬剤の高額化も相まって、医薬品の市場規模が世界的に拡大し続けていることも、旺盛な開発投資や多くの研究者や組織・企業の医薬品研究への参入の大きな誘因となっている。

図表1：臨床開発段階における薬剤候補（化合物）数の推移



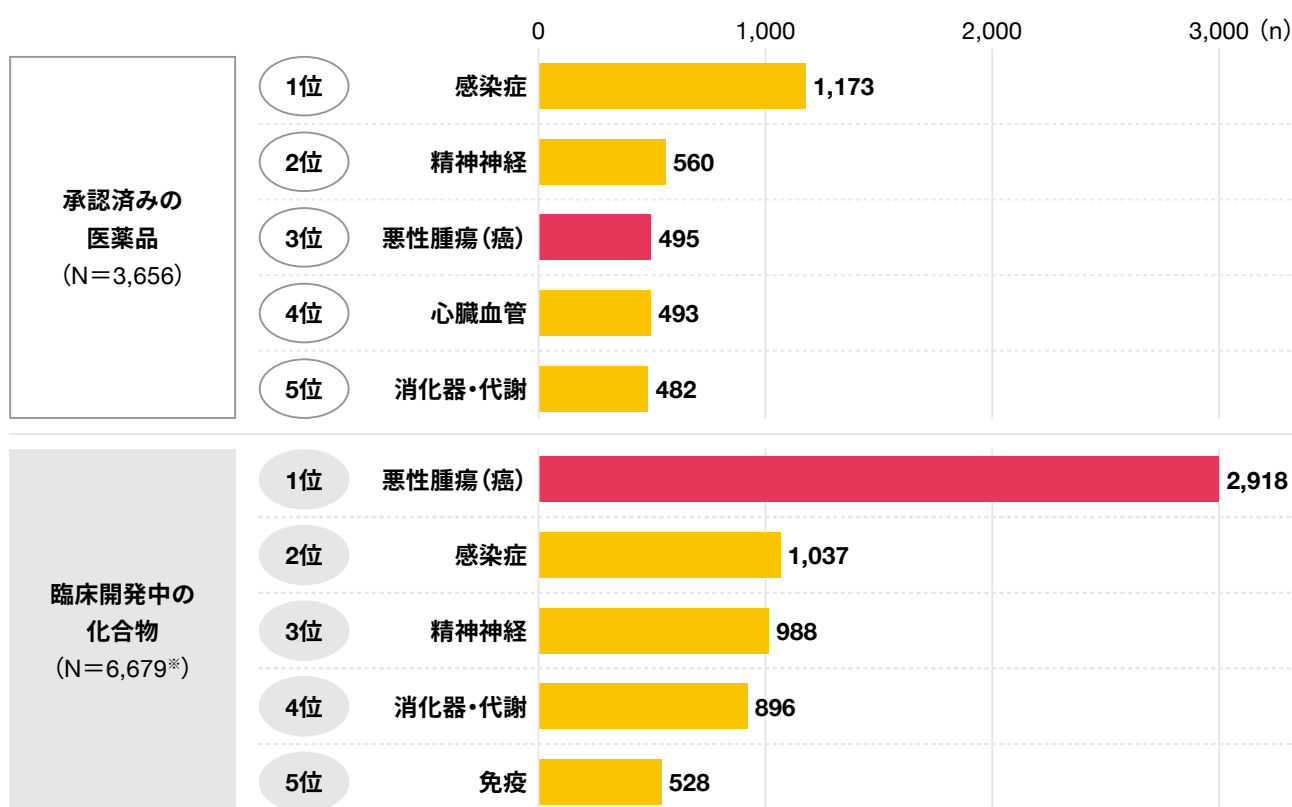
出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

臨床開発のターゲットとなっている疾患分野は、悪性腫瘍（癌）が圧倒的な第一位

既に開発に成功して承認されている薬剤をその治療疾患分野別に見た場合（図表2・上段）、最も多いのは感染症治療薬である。これまでに1,000以上の感染症治療薬が世界で承認されており、現在実用されている薬の3つに1つが感染症治療薬という状況である。他に薬剤治療の主たる対象となってきたのは、精神神経疾患、悪性腫瘍（癌）、心臓血管（循環器）疾患、消化器・代謝疾患であり、いずれも500前後の既承認薬を有する疾患分野として、ほぼ横並びで続いている。

一方、承認を目指して現在臨床開発中の薬剤候補に目を転ずると（図表2・下段）、それら新規化合物が治療ターゲットとしている疾患分野は悪性腫瘍（癌）が最多となって他疾患を圧倒している。既承認薬として最多だった感染症分野は2位に後退し、現在開発が試みられている化合物の数は癌分野のおよそ3分の1にすぎない。また、既に降圧薬・抗凝固薬・抗不整脈薬など非常に多くの薬剤が使用されている心臓血管（循環器）分野は、現在では開発ターゲットの上位からは脱落している。代わって上位に登場しているのが免疫分野であり、疾患メカニズムの解明と創薬技術の進歩に伴うバイオロジクス（生物学的製剤）による自己免疫疾患治療開発の隆盛などを反映している。

図表2：承認済み医薬品と開発中の医薬品候補がターゲットとする疾患分野



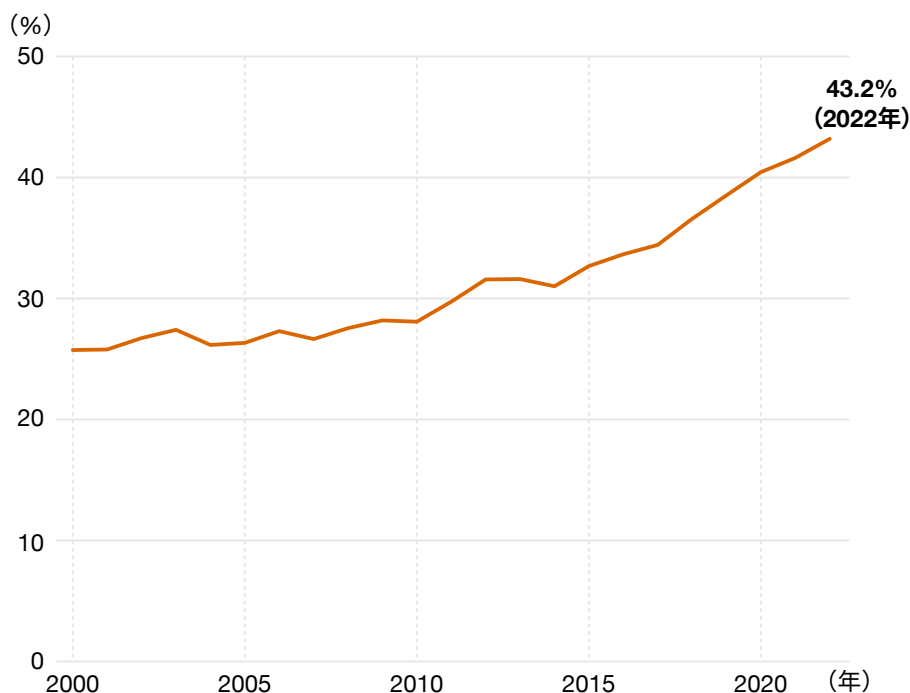
(2023年6月時点)

※2023年データをエクスポートする時点によりデータ数が変動するため、後続の図表中に示された2023年データ数と一致しない可能性がある
出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

臨床開発中の全化合物に対する抗悪性腫瘍薬候補の割合（シェア）は、2000年頃には約25%であったものが漸次増加し、2022年には約43%に達している（図表3）。とりわけ2015年以降にはシェアの増加速度が高まり遠からず過半数

に達しそうな勢いとなっている。前述のとおり、この期間における臨床開発中の全化合物数の増加は顕著であり、そのなかでさらにシェアを増加させている抗悪性腫瘍開発の活発さは特筆すべき点である。

図表3：臨床開発中の化合物に占める抗悪性腫瘍薬候補の割合



出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

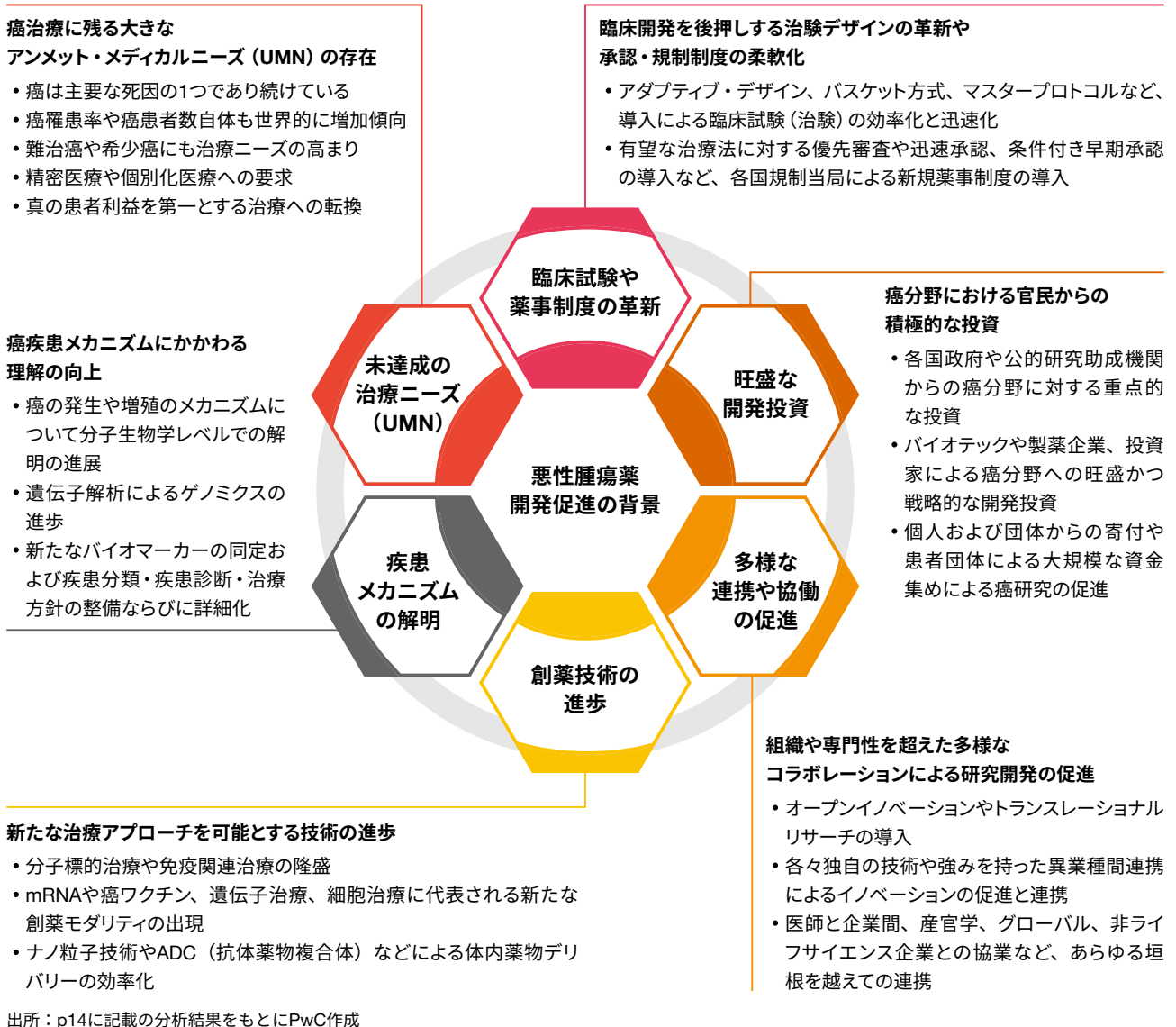
2. 悪性腫瘍領域における薬剤開発

悪性腫瘍（癌）領域における薬剤開発伸長の背景

このように悪性腫瘍（癌）を治療ターゲットとする薬剤開発が他の疾患分野を圧倒して増加している背景には、いくつかの要因が考えられる（図表4）。癌は長らく日本人の死因の第1位であり、他の先進各国においても心疾患などとともに主要な死因の1つであり続けている。そのため、あらゆる癌において患者の生存率を高め、願わくば疾患自体を治癒せしめる薬剤治療の開発を求めるアンメット・メディカル・ニーズ（満たされていない医学的・診療上の要求）は常に大きい。また、これまでは患者数が少ないことや難治性で治療困難であるといった理由から新規薬剤の積極的な開発対象になっていなかった癌腫（癌種）も多く存在する。さらに、腫瘍の大きさや存命期間だけではなく、むしろ患者さんの症状やQOL（生活の質）に癌治療効果の主たる目標を定めるべきとの反省もある。

このような状況下、近年になってさまざまな癌の発生や増殖のメカニズムの科学的な解明が進展し、それらをターゲットとする治療アプローチや創薬技術が考案されている。その結果、数多くの抗悪性腫瘍薬候補（化合物）が研究開発のプロセスに乗ることになった。実際のところ、この分野の研究に対する投資は世界的に旺盛であり、大きなビジネスチャンスがあると見なされている。期待がかかる創薬ターゲットやアプローチの研究開発には製薬各社から多くの類似する化合物が争うように投入され、さらには既存薬や他の有望な薬剤候補との併用を前提とした化合物開発も盛んになるなど、抗悪性腫瘍薬の研究開発は一部加熱と言ってよいほどに活発化している。

図表4：悪性腫瘍（癌）分野の薬剤治療開発が特に促進されている要因



出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

3. 国別にみた抗悪性腫瘍薬の臨床開発状況

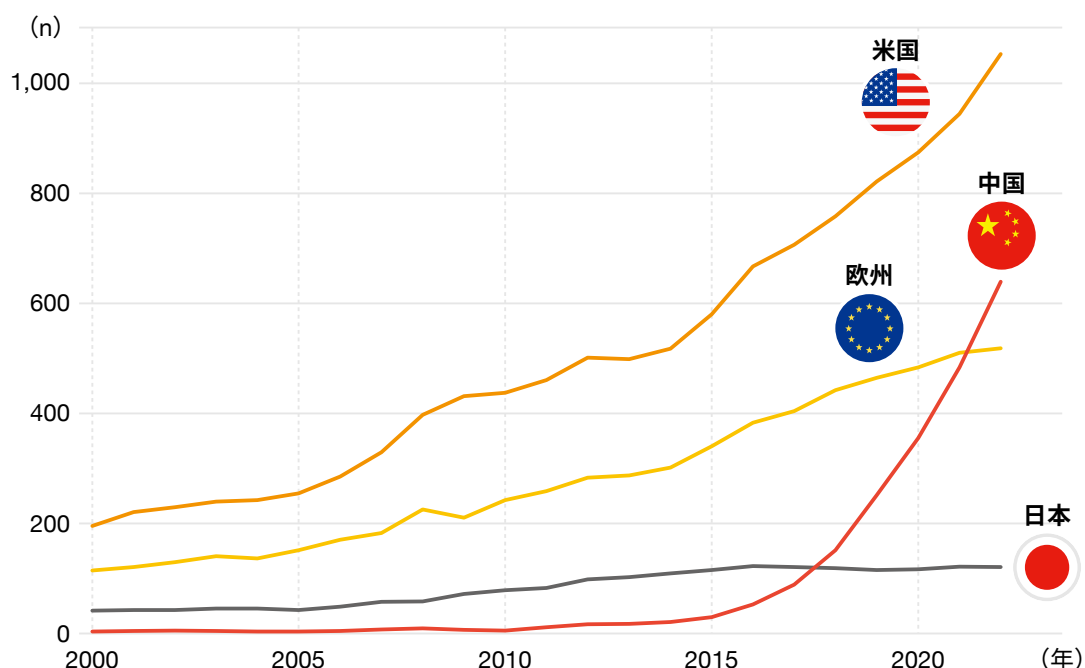
2015年を境に中国発の開発が勃興し、米・中の二強になりつつある癌治療薬開発競争

かつて薬剤の研究開発における主だった役割は米国・欧州・日本の三極のみでそのほとんどが果たされており、それは悪性腫瘍（癌）領域においても同様であった。2000年時点での抗悪性腫瘍薬候補の由来（当該化合物創製者＝オリジネーターの所在）を国別にみるとこれら三極で全体のおよそ9割を占め、それを米：欧：日＝5：3：1程度で分け合っていた。

この様相が、既述のように近年抗悪性腫瘍薬の臨床開発が世界的に極めて活発化して高成長を続けるなかで大きく

変化してきている（図表5）。2000年以降、米国と欧州発の化合物の臨床開発が一貫して強い伸びを示してきたなか、日本はこれまで20年以上にわたって微増・横ばい～微減という経過をたどり、結果として欧米に大きく劣後する現状となっている。そして、この勢力図に最も大きな変化をもたらしたのは中国の勃興である。従来ほとんど皆無であった中国発の臨床開発化合物は、2015年頃に登場するとその後はまさに激増を示し、2018年には日本を上回り、2022年のデータでは欧州も超えて米国に次ぐ規模に達している。

図表5：由来国別にみた臨床開発中である抗悪性腫瘍薬候補（化合物）数の推移

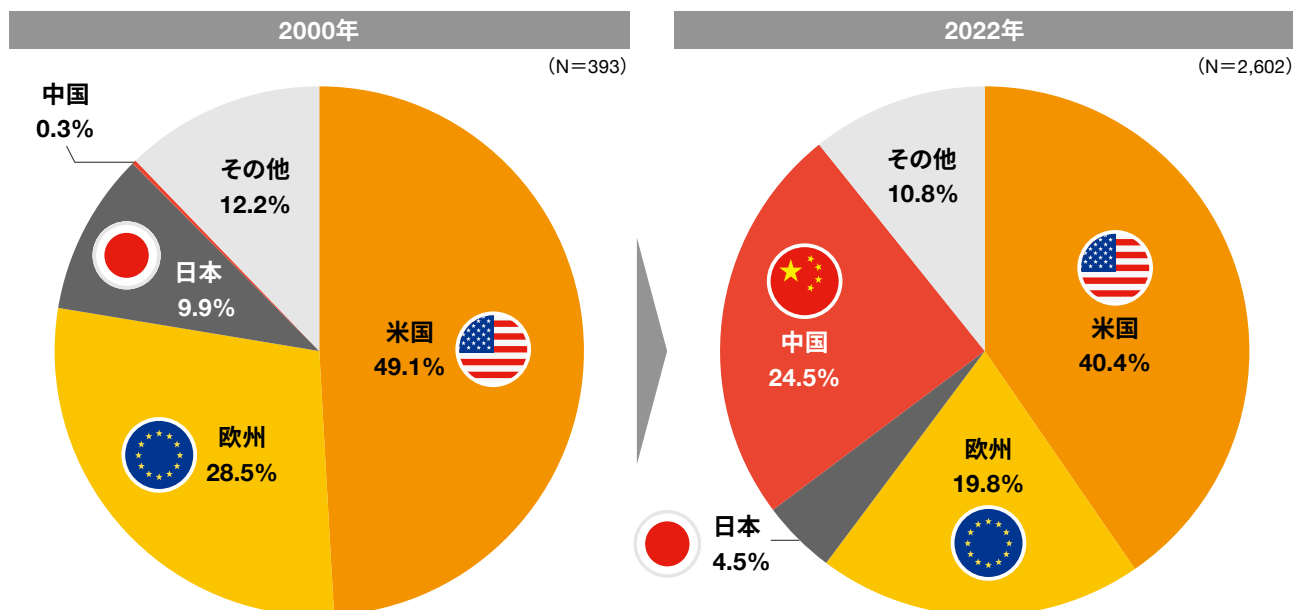


出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

この期間における変化を2000年と2022年の2点で比較すると、その差は歴然となる（図表6）。日本については、当該化合物の実数を39（2000年）から22年間で118（2022年）まで増やしてはいるものの、世界的な成長には全く追いつけず、シェアを低下させ、足もとでは米国とは10倍、欧州とも5倍程度もの差が生じてしまっている。これに対して中国については、2000年時点ではわずか1つ（世界シェアの

0.3%）の化合物が記録されているのみであったものが、2022年データでは637まで増加しており、悪性腫瘍（癌）治療分野で臨床開発されている全世界の化合物のうち、実に4つに1つを占めるまでになっている。また、これらの化合物を創製した中国の企業や組織（オリジネーター）の数は、現在200以上にも及んでいる。

図表6：臨床開発中である抗悪性腫瘍薬候補（化合物）由来国のシェア変化



出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

中国起源の化合物が激増した背景とその臨床開発の特殊性

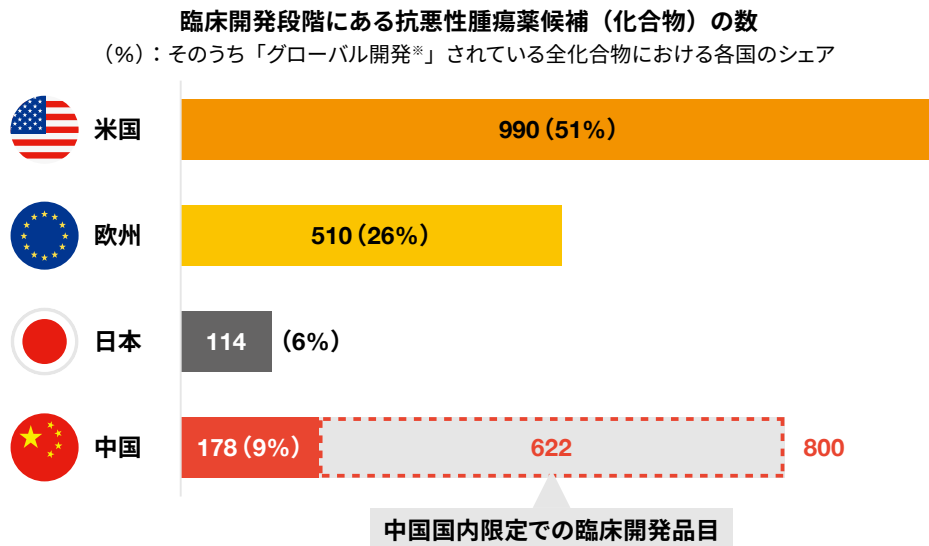
近年の抗悪性腫瘍（癌）薬開発における中国の躍進の背景の中心にあるのは、第一には中国による国家的な意思と実行である。バイオ医薬品ビジネスを国家の重要戦略の1つに位置付けた習近平政権下の中国は製造業振興発展計画「中国製造2025」（2015年）や「健康中国2030」政策（2016年）を発表、製薬産業の本格的な育成と薬剤開発イノベーションの強力な後押しを開始した。この際、投資促進策のみならず人材確保の施策も打たれ、それまで先進各国の研究機関やメガファーマなどに在籍していた中国人研究者らが帰国することによって、数多くの製薬・バイオテック企業の設立を支えたといわれる。また、国内における基礎研究の奨励、臨床試験（治験）環境の整備、合理的で迅速な薬事・承認審査体制の導入、さまざまな優遇策や環境整備による国外投資や国際コラボレーションの呼び込みなども同時に行われ、創薬が促進された。さらに、中国ではこれ以前からバイオ領域での製造力が蓄積されつつあったこと、国の発展に伴い癌、心血管疾患、生活習慣病などの有病率が上昇して自国での医療需要が急拡大していることも見逃せない。すなわち、前述した「（癌領域における）薬剤開発が伸長する背景」（図表4）の全ての理由が政策的・状況的に全て揃った状況が近年の驚くべき急成長を支えてきたと言える。

さて、臨床開発中の化合物の創出数においては現在米国に次ぐ世界第2位となった中国であるが、それら化合物の開発の多くは中国国内のみにおいて行われている。薬事規制の国際標準化推進を目的とするICH（医薬品規制調和国際会議）を1990年に発足させた米国・欧州・日本のいずれかにおいて臨床開発が行われている化合物を「グローバル開発品」と定義した場合、それらグローバル開発品に占める中国由来の化合物の割合ははまだ10%未満にどどまっており、中国由来の化合物の4分の3以上は中国国内においてのみ臨床開発されている（図表7）。逆に言えば、日米欧における臨床試験（治験）において目にどどまる中国由来の薬剤候補に加えて、中国国内においてはその3倍もの数の抗悪性腫瘍薬候補が別途臨床開発されていることになる。

2017年に初めてICHに参加した中国（China FDA）は2021年にICHの規制当局メンバーへと昇格した。今後中国は抗悪性腫瘍薬開発においてもより国際標準化を取り入れ、「グローバル開発」におけるシェアも着実に高めていくものと思われる。

一方、2023年後半時点では中国経済の急減速が伝えられるとともに、さまざまな要因による米中・欧中のデカップリング（分断）の傾向もあり、中国での創薬の著しい高成長や国際化がこのまま持続するか否かは不透明である。

図表7：抗悪性腫瘍薬のグローバル開発と中国による開発の状況



(2023年6月時点)

※少なくとも米欧日（旧来のICH3極）のいずれかが臨床開発実施地に含まれている化合物を示す。シェアは化合物の由来国別であり、日米欧中にその他の国々を合わせて100%となる
 出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

4. 抗悪性腫瘍薬開発と創薬モダリティ

新規モダリティの取り込みが目立つ、悪性腫瘍（癌）領域における創薬研究

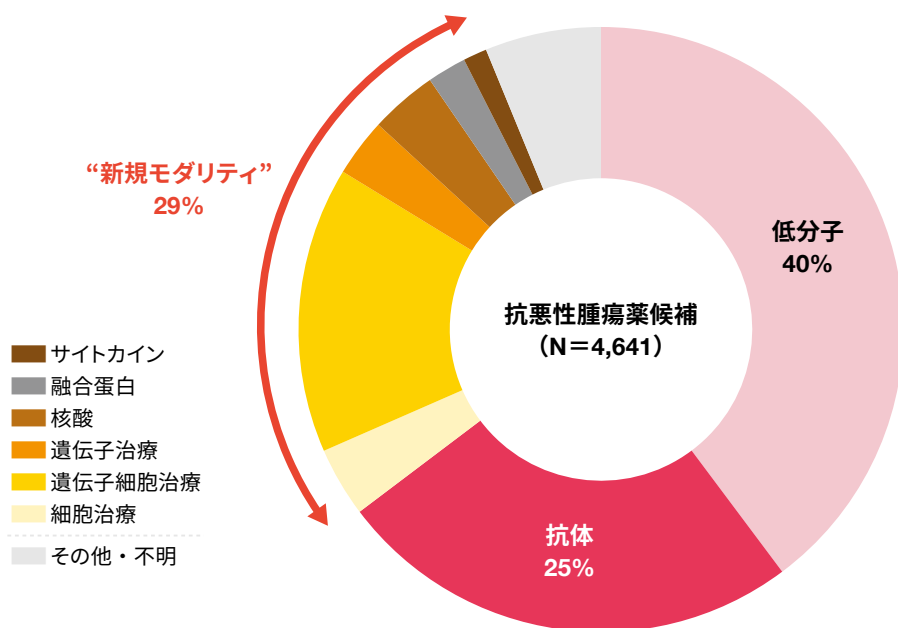
近年、創薬に応用される基盤技術（モダリティ）は飛躍的に拡大し、進歩している。創薬モダリティについて、われわれは便宜的に低分子、中分子、および抗体薬を「既存モダリティ」、遺伝子治療、細胞治療、組織工学、mRNAなどを「新規モダリティ」と分類し、製薬R&Dのパイプライン（前臨床から承認申請中まで含む全体）において2014年以降、新規モダリティが著しく伸長していることを別稿で紹介した（「[創薬モダリティとはなにか?](#)」）。

このトレンドは抗悪性腫瘍薬分野においても例外ではなく、新規モダリティは現在前臨床段階にある開発化合物の約3割を占め、それに応じて旧来主流だった低分子の割合は約4割にまで低下している（図表8）。今後については、もちろん各化合物の開発結果いかんにはよるものの、新規モ

ダリティは悪性腫瘍（癌）分野での臨床試験、さらには承認済みの癌治療においても増加していくと予想される。

米国における近年の開発化合物の増加には非大手企業に由来するものの寄与が大きい。実際のところスタートアップなどの小規模のバイオベンチャーから小～中規模の製薬企業に由来する開発化合物の数や、それらを創製したオリジネーターとして名を連ねる企業数は年々増加しているが、新規モダリティを採用する多くの化合物がそういった新興オリジネーターに由来していることは見逃せない。これは、日本発の開発化合物においては新規モダリティが低率にとどまっているという、後述する現状の裏返しとしても考えられる。

図表8：前臨床段階にある抗悪性腫瘍薬候補の創薬モダリティ



(2023年6月時点)

出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

5. 日本発の抗悪性腫瘍薬開発

憂慮される日本の癌治療薬候補（化合物）創出力の凋落

日本による抗悪性腫瘍分野における創薬について、今回解析した数量的なデータにおいては長年にわたる際立った低成長と、結果としての相対的な国際地位の低下という、日本経済の「失われた30年」と符合するような結果が明らかとなった。本稿においては、臨床開発中である抗悪性腫瘍薬候補のうち日本に由来する化合物（創製者＝オリジネーターの所在が日本であるもの）のシェアが2000年から2022年までに半減していることを既に示した（図表6）。ここで、さらに直近2023年6月のデータを国・地域別に解析したと

ころ、日本のシェアは4.1%とさらに低下している。日本以下、7位のドイツまでの各国もほぼ同等の数字で続くことから、日本が際立った創薬国の1つであるとはもはや言い難い状況となっている（図表9）。また、日本を含む第3位グループのなかでは韓国が著しい成長を遂げている。韓国は大規模な癌センターへの集約などによりかねてから強みが知られる臨床開発（治験の実施）に加えて、悪性腫瘍分野の創薬研究（基礎研究）においても日本を優越しつつある。

図表9：臨床開発されている抗悪性腫瘍薬候補（化合物）の由来国・地域別ランキング*（2023年6月時点）

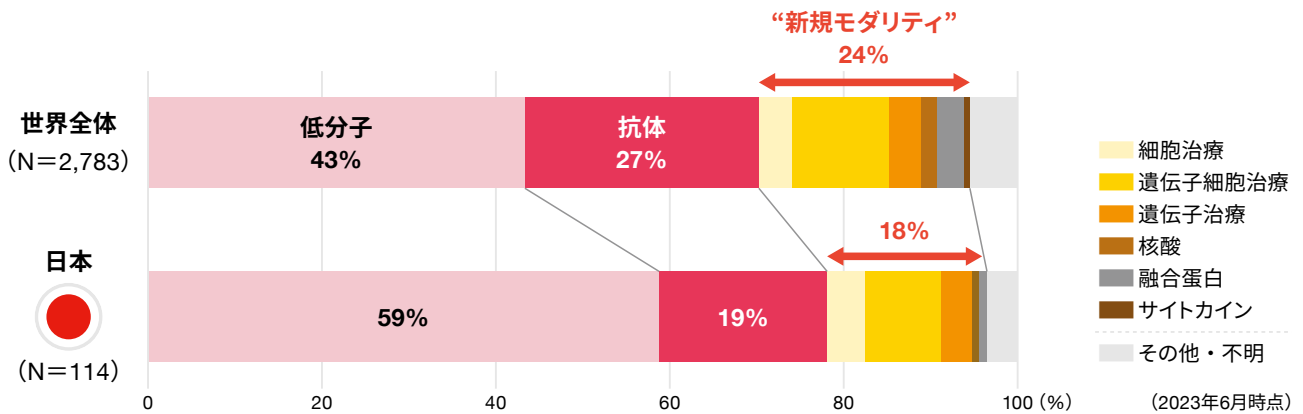
順位	国・地域	化合物数	シェア (%)
1	米国	1,039	37.3%
2	中国	800	28.7%
3	日本	114	4.1%
4	スイス	105	3.8%
5	韓国	102	3.7%
6	英国	97	3.5%
7	ドイツ	92	3.3%
8	フランス	64	2.3%
9	カナダ	47	1.7%
10	台湾	37	1.3%
11	オーストラリア	28	1.0%
11	デンマーク	28	1.0%
13	オランダ	27	1.0%
14	イスラエル	24	0.9%
15	香港	22	0.8%
15	スペイン	22	0.8%
...
総計		2,783	100.0

*Ph1試験～承認前の段階にある化合物のオリジネーター（開発企業）の所在国・地域に拠る
出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

日本をオリジネーターとする化合物をモダリティ別にみると「新規モダリティ」の割合が明らかに小さい（図表10）。悪性腫瘍治療においても、既に最重要モダリティとして確立している抗体薬候補の割合は世界のトレンドよりも小さく、結果として低分子への依存度が大きいままであることが分か

る。創薬の優劣がモダリティのみで論じられるわけではないものの、低分子化合物を中心とした有効成分は探索され尽くされたとも言われるなかで、日本が世界のトレンドに乗り遅れ、イノベーションを生み出しにくくなっているとの懸念は禁じ得ない。

図表10：臨床開発段階にある抗悪性腫瘍薬候補の創薬モダリティ



出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

日本の停滞の背景と諸外国からの学び

抗悪性腫瘍分野における日本発の創薬が海外諸国と比べて低調であることの理由の多くは日本の創薬研究全般に共通するものである。これら要因は多岐にわたるとともに複合的であるが、ここでは (A) 研究投資が絶対的に不足していること、(B) スタートアップやバイオテックの活動が乏しいことの2点を、わが国に特徴的な事実として指摘したい。

(A) 研究投資については、米国・欧州・中国などが研究投資額、研究者数ともに増加し続けているのに対して、主要国のなかで唯一日本のみが研究予算を総額でも政府医療研究開発投資額GDP比でも横ばいとどまっている。また、研究者一人当たりの研究費や、民間企業によるアカデミアへの研究費拠出についても他国に大きく劣後したままとっている。これらには日本経済自体の不調、度重なる国内薬価の引き下げによる期待投資効果の減退、国内製薬企業R&D機能の国外シフトなどさまざまな背景が影響しているものと思われる。これらの背景に加えて、世界的にイノベーションが次々起こるなかでの投資不足は競争力の加速度的な低下に繋がりがかねない。

(B) スタートアップやバイオテックの活動については、日本の基礎研究の実力は引き続き高く評価されている反面、優れた研究結果や創薬アイデアを持つアカデミアがそのまま主体的に創薬実現へかかわるケースが乏しいという問題である。創薬分野のイノベーションをリードしているのが今やスタートアップやバイオテックだというのが世界の趨勢だが、日本ではアカデミアの研究者が資金調達や外部連携によって自ら、もしくは外部企業や投資家からの誘いによって起業して創薬を進めていくという展開は少数にとどまっている。異業種や異分野間での広範なパートナーシップの後れや、産官学の垣根を越えての異動や交流の乏しさといった日本固有の閉鎖性の解消がまだまだ不十分と考えられ、その結果、学術的な知見・発案と薬剤開発の実務実行とが分断していることは大きな損失である。

このような状況はすなわち、本稿の前半で論じた悪性腫瘍(癌) 分野での創薬活動が極めて活発化している背景として6つに大別して示した促進要因(図表4)のうち、日本では少なくとも投資(研究資金や人材)と連携・共同(多様なコラボレーション)の2要因が不足・欠落していることを示している。裏を返せば、この2点を促進要因として取り込むことができれば日本でも抗悪性腫瘍薬開発が活性化する可能性は高い。創薬を取り巻く医科学や医療、テクノロジー、産業構造は近年著しく高度化・複雑化していることから、多様な知識・専門性を持った組織や人の協働はもはや必須であり、異なるステークホルダー間で専門性やリソース、リスクを負担し、分担することによって革新的で競争力のある創薬は可能になる。

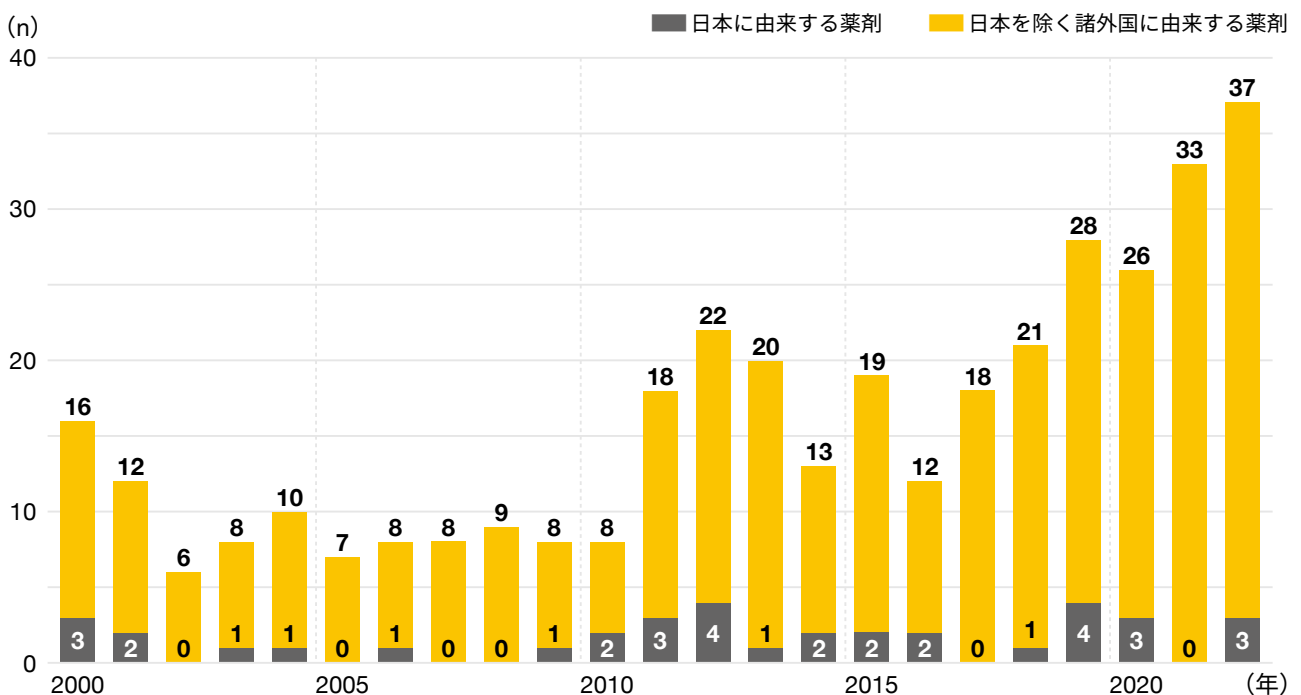
多様な連携を可能にし、十分な投資の呼び込みを試みるにあたっては他国の事例も参考としたい。例えば米国においては「ネットワーク型イノベーションモデル」が2000年以降に急速に浸透し、従来の各製薬企業内完結型であった創薬モデルからの修正が行われた。このモデルの導入によってこれまで経済的基盤やインフラの欠如に苦しんでいた中小の研究機関も研究報酬による持続可能性を獲得、そこで働く優れた研究者らも自らの研究が創薬に繋がることを実感、また成功報酬によってもモチベーションと生産性を高めるという好循環を生んだ。結果、2013年以降にはFDAに新規承認される薬剤の過半数をこのモデルによるものが占めるようになっている。さらに中国においては、保険償還薬を定めるNRDL(国家医療保険償還医薬品リスト)を毎年改訂するとともに、従前のジェネリック薬重視から画期的新薬のリスト入り推進へと転換し、革新的研究開発への誘引としている。加えて、2019年には医薬品市販承認取得者制度の導入によって、研究機関や研究者個人にも販売許可申請の門戸を開放。アカデミア自らによる創薬の促進を図っている。

6. 終わりに

本稿では、創薬研究や臨床開発の過程にある薬剤候補・化合物の数量を目安として、近年悪性腫瘍（癌）治療分野での創薬が顕著な成長を続けていることや、そこにおける中国の躍進や日本の停滞などを示した。よく知られるように創薬の成功率は極めて低く、大部分の薬剤候補（化合物）は多額の資金と長く複雑な開発過程を費やしながらかも求められる有効性や安全性を満たせずに開発から脱落してしまうことが多い。その結果、薬剤としての承認に至るものはごく僅かである。現在、悪性腫瘍治療分野においては実に3,000近くもの化合物が臨床開発中であることは既述したとおりである（図表2）。それに伴い成功率も増加傾向となり、直近

5年には毎年20以上の化合物が新たに抗悪性腫瘍薬として承認され続けている（図表11）。日本由来の新規承認については毎年ゼロ～数個の範囲で横ばいであり、直近10年間には効果的に標的癌組織に作用する抗体薬物複合体（ADC）や癌免疫療法であるチェックポイント阻害剤など日本をオリジネーターとする新規薬剤が癌治療の発展に大きなインパクトを与えている例があるものの、抗悪性腫瘍薬創薬分野における存在感の相対的な低下は否めない。繰り返し、協働や連携の環境をつくる、早期研究支援はじめとして十分な投資を確保する、さらには薬事や薬価政策の最適化などを通して日本発の創薬を促進していくことが望まれる。

図表11：各年に承認された抗悪性腫瘍薬数の推移*



※ある化合物について全世界での初承認のみを1件として集計
出所：p14に記載の分析結果をもとにPwC作成

抗悪性腫瘍薬のグローバル市場では当面ブロックバスターと呼ばれるような大型新薬の登場は予想しづらいにせよ、健全な成長は2020年代後半に向かって持続するものとみられている。癌治療におけるアンメット・メディカルニーズ（UMN）は数多く残されており、患者や家族にとっても、医師ら癌診療提供者にとっても、有効な新規治療薬の登場は常に福音である。一方で、癌治療薬の高額化や治療アクセスの不平等、高度化・複雑化に伴う教育や設備・診療手順の整備の必要、生命倫理の問題など、解決すべき課題も山

積している。足もとでは、バイオ技術の進化にゲノム情報やその他ヘルスデータの解析や生成AIの利活用なども加わって、治療標的の特定や薬剤候補分子の発見に始まり一連の臨床試験と承認申請に至る薬剤開発は、悪性腫瘍分野においても高速化とパイプライン増大がますます進むものと考えられる。革新的な抗悪性腫瘍薬の次なる登場に期待しつつも、新たな課題や困難の発生や日本における創薬環境の動向には留意していく必要がある。

本稿のデータと解析手法

概要

本稿における世界の抗悪性腫瘍薬の開発状況とその内訳の解析は、Informa社の「Pharmaprojectsデータベース（2023年9月時点）」を用いて実施した。解析対象は同データベースの“Anticancer”カテゴリで臨床開発（Phase I - III、Pre-registration）の段階、もしくは前臨床開発（Preclinical）の段階にある化合物とし、これらを本研究では「悪性腫瘍に対する治療薬候補（化合物）」と定義した。このように抽出されたデータセットに現れた化合物を、①「開発段階（当該化合物の臨床試験のうち最も進んでいるPhase）」、②「その開発主体である企業の所在国・地域」、③「モダリティ」によって分類、状況と傾向の把握を試みた。

詳細

【主な用語の定義】

- 抗悪性腫瘍治療薬（治療薬候補・化合物を含む）：当該データベースにおける“Drug Disease Group”カテゴリが“Anticancer”のもの。Trends分析（経年的な分析データ）においては、“Therapeutic Class”カテゴリが“Anticancer Products”のものとした
- バイブライン：“Phase I Clinical Trial”から“Pre-registration”の開発段階。文脈によっては“preclinical”の研究段階にある化合物の集合体
- オリジネーター：当該データベースにおいて Originatorは、「各化合物の開発（非臨床/臨床）に着手した企業」として定義されている。すなわち、開発品の主要特許を取得した主体とは一致しないケースがあることには留意が必要となる。また、データベースの構成上、2012年7月以前にM&Aなどによる企業買収により獲得された開発品では親会社（買収側）をOriginator、それ以降については子会社（被買収側）がOriginatorとしてタグ付けされて集計されている。
- 国・地域（薬剤候補・化合物の由来国）：“Originator”として登録されている企業（主に「はじめに対象化合物の開発に着手した企業」）の所在国または地域を指す。
- モダリティ：当該データベースでは、1つの化合物に1つのモダリティが紐づいている。解析においては、モダリティ定義（次項解析手順参照）に従い分類し、本稿では「低分子医薬品」「抗体医薬品」「遺伝子細胞治療」「Fusion Protein」「遺伝子治療」「核酸医薬品」「細胞治療」「Cytokine」「その他・不明」で分類した
- 悪性腫瘍分野での承認数：Global StatusがApproved（LaunchedとRegistered）状態にある薬剤（化合物）の数

【解析手順・参考】

今回の解析では主として割合算出の方法を用いており、具体的には以下の手順によってデータ分析を行った：

1. データ抽出

Informa社の「Pharmaprojectsデータベース（2023年9月時点）」からデータを抽出した。手順1) 新有効成分の品目を抽出し、“Therapeutic Class”カテゴリから以下を除外：「バイオシミラーや剤形変更、診断薬など [“Biosimilar” “Formulations” “Companion diagnostic” “Imaging agent” “Radio/chemoprotective” “Radio/chemosensitizer”]」、手順3) 抗悪性腫瘍分野で開発（非臨床、承認含む）されているものを抽出。“Drug Disease Group”カテゴリが“Anticancer”、かつ“Most Advanced Current Status”がPreclinical~Approved。Trends分析においては、“Therapeutic Class”カテゴリが“Anticancer Products”のものを抽出した

2. データの前処理

収集されたデータを下記の方法でさらにクレンジングした：

Anticancerで最も進んでいるStatus：“Drug Disease Group”カテゴリが“Anticancer”、かつ各Drug内の“Current Status”カテゴリが“最も進んでいる開発段階が“Phase I Clinical Trial”から“Pre-registration”のものを抽出した。

創製企業（オリジネーター）：“Originator/Licensee”カテゴリから“Originator”で絞り込んだ後、“Company”カテゴリに表示される会社情報を抽出。ただし、“Company (Subsidiary/Acquiree)”カテゴリに会社名が記載されている場合には“Company (Subsidiary/Acquiree)”カテゴリの会社情報を抽出した（Originatorが買収された場合、もともとのOriginatorの会社名が“Company (Subsidiary/Acquiree)”に記録されるため）。

創製企業（オリジネーター）の所在国・地域：上記手順で抽出した開発企業（オリジネーター）の“Company HQ Country”カテゴリには、“USA” “Japan” “China”は国名そのまま、“Europe”はPharmaprojectsでEuropeとして登録されている国、“Others”は上記以外として処理した。

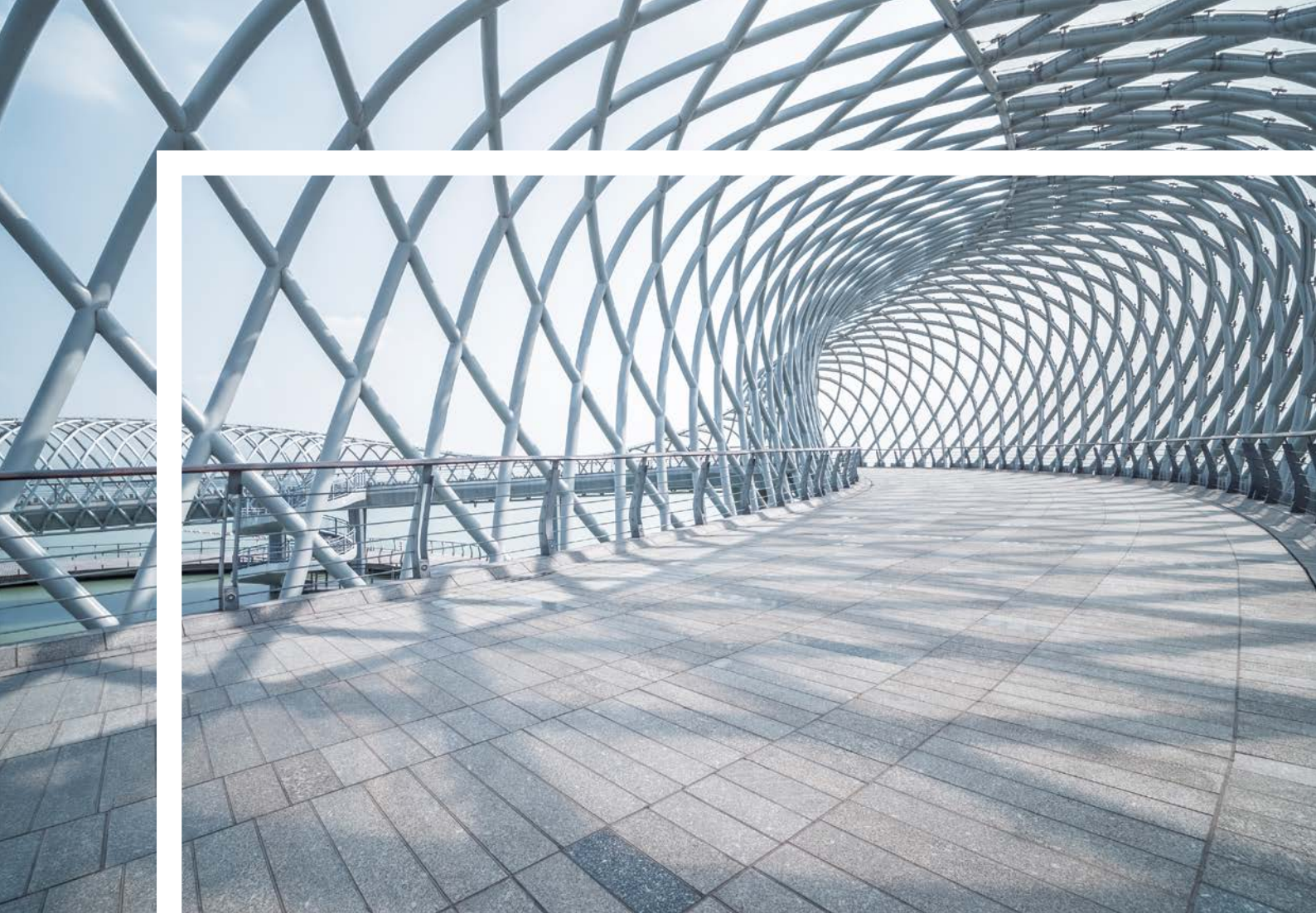
ICH3種のいずれかで開発されている化合物：“Drug Disease Group”カテゴリが“Anticancer”、かつ“Drug Country”カテゴリが“Japan or USA or Europe”に該当するDrugと定義し、データ処理をした。

モダリティ：今回の統計では、次の手順に沿って各モダリティを定義し、データ処理をした→「抗体医薬品」：生データではAntibody-drug conjugate、その他Antibodyに該当するもの。「遺伝子細胞治療」：生データではCAR-T、TCR、その他（[“Therapeutic Class”に“Cellular therapy”を含む or “Origin”に“Biological, cellular”を含む]、かつ [“Therapeutic Class”に“Gene therapy”を含む]）のみ該当。「融合蛋白」：生データではFusion Proteinのみ該当。「核酸医薬品」：生データではアンチセンス、siRNA、アプタマー、その他オリゴヌクレオチド（miRNAや、CpGオリゴなど）、およびその他（[“Origin”に“Biological, nucleic acid”か“Chemical, synthetic, nucleic acid”を含む]）に該当するもの。「遺伝子治療」：生データでは、Lytic virus（ウイルス複製感染）、non-viral vector、viral vector、その他（“Therapeutic class”に“Gene therapy”を含む）が該当するもの。「細胞治療」：生データ内モダリティは記載がない。作用機序はImmune check point stimulantやCD4アゴニストなどが該当。生データの“Therapeutic Class”に“Cellular therapy”を含む、もしくは“Origin”に“Biological, cellular”を含むものに該当。「低分子医薬品」：生データの“Origin”に、“Chemical”を含む or “Natural product”を含むものに該当。「サイトカイン」：生データではCytokineのみ該当。「その他・不明」：上記分類以外のもに該当。

各年に承認された抗腫瘍薬数：Trends分析において、「データ」→「重複の削除」（“Citeline Drug ID”を元に）を実行し、各年度Global StatusがLaunchedかRegisteredのデータを抽出した。そのうえで、各年とその前年の差分を取ることで、各年の新規承認数（各化合物について、最初の適応症が承認された一度のみをカウント）として算出している。そのため、既承認薬の承認取り消しや絶版などが生じている場合には、実際の年間新規承認数との間と異なる結果となることがあり得る。

3. データ解析

該当化合物のカウントや割合算出の方法を使用して、世界における抗悪性腫瘍薬の開発状況とその内訳を解析した。これには、パーセンテージや割合、または比率・シェアの計算が含まれる。なお、データ上では2000年代初期における中国由来の化合物の数量は極めて少数にどまっているが、当時におけるPharmaprojectによる同国情報のカバーが十分に確立していなかった可能性も排除できない。



執筆者



船渡 甲太郎

PwCコンサルティング合同会社
パートナー

<https://www.pwc.com/jp/ja/contacts/f/kotaro-funato.html>



佐久間 仁朗

PwCコンサルティング合同会社
ディレクター

<https://www.pwc.com/jp/ja/contacts/s/yoshiaki-sakuma.html>

お問い合わせ先

PwC Japanグループ

<https://www.pwc.com/jp/ja/contact.html>



www.pwc.com/jp

PwC Japanグループは、日本におけるPwCグローバルネットワークのメンバーファームおよびそれらの関連会社（PwC Japan有限責任監査法人、PwCコンサルティング合同会社、PwCアドバイザリー合同会社、PwC税理士法人、PwC弁護士法人を含む）の総称です。各法人は独立した別法人として事業を行っています。

複雑化・多様化する企業の経営課題に対し、PwC Japanグループでは、監査およびアシュアランス、コンサルティング、ディールアドバイザリー、税務、そして法務における卓越した専門性を結集し、それらを有機的に協働させる体制を整えています。また、公認会計士、税理士、弁護士、その他専門スタッフ約11,500人を擁するプロフェッショナル・サービス・ネットワークとして、クライアントニーズにより的確に対応したサービスの提供に努めています。

PwCは、社会における信頼を構築し、重要な課題を解決することをPurpose（存在意義）としています。私たちは、世界151カ国に及ぶグローバルネットワークに364,000人以上のスタッフを擁し、高品質な監査、税務、アドバイザリーサービスを提供しています。詳細は www.pwc.com をご覧ください。

発行年月：2024年3月 管理番号：I202309-14

©2024 PwC. All rights reserved.

PwC refers to the PwC network member firms and/or their specified subsidiaries in Japan, and may sometimes refer to the PwC network. Each of such firms and subsidiaries 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.