2016 年米国バイオテクノロジー産業の動向

2017 年 3 月

日本貿易振興機構（ジェトロ）

サービス産業部

【免責事項】

本調査リポートで提供している情報は、ご利用される方のご判断・責任においてご使用ください。ジェトロでは、できるだけ正確な情報の提供を心掛けておりますが、本調査リポートで提供した内容に関連して、ご利用される方が不利益等を被る事態が生じたとしても、ジェトロ及び執筆者は一切の責任を負いかねますので、ご了承ください。

禁無断転載

はじめに

政府の成長戦略「日本再興戦略 2016」（平成 28 年 6 月 2 日閣議決定）では、医療の国際展開を進めるため、医薬品等の海外販路開拓支援を進める方針を打ち出している。ジェトロは本戦略の下、世界各地で我が国企業と現地パートナーとの商談機会を設け、企業の海外展開支援を行っている。

世界の医薬品市場を見渡すと、米国は最大のマーケットであり、ここには世界的大手製薬メーカーがひしめく。市場としても、またビジネスのパートナーとしてもバイオテクノロジー分野において、米国は最需要国と言えよう。

本調査では、米国のバイオテクノロジー市場の最新動向および雇用や資金調達の状況、米国食品・医療品局（FDA）が近年承認したバイオ医薬品の事例の他、特に注目されている再生医療等といった先端医療の取組み等についてとりまとめた。日本の中小企業にとって、今後の海外展開の一助となれば幸いである。

なお、本書は米国ワシントン DC にある調査会社ワシントンコアの協力を得てとりまとめた。

2017 年 3 月

日本貿易振興機構（ジェトロ）

サービス産業部

＜ジェトロのヘルスケア分野における海外展開支援のご案内＞

ジェトロのサービス産業部ヘルスケア産業課では、バイオ医薬品関連、医療機器、健康長寿関連品・サービス等の海外展開を、海外見本市での商談機会の設定などを通じてサポートしております。各種サービスのご案内は以下ウェブサイトをご覧いただくか、お問い合わせ先までご連絡ください。

（ジェトロ ライフサイエンス分野の取組のご案内） https://www.jetro.go.jp/industrytop/life_science/

（お問い合わせ先） ジェトロ サービス産業部 ヘルスケア産業課 03-3582-8351 / sid@jetro.go.jp

目次

1 2016 年米国バイオテクノロジー産業の概況 8
1.1 概況 8
1.1.1 市場全体の概要と成長予測 8
1.1.2 バイオテクノロジー企業数推移 9
1.1.3 コマーシャルリーダー 10
1.1.4 製薬会社によるバイオ医薬品への傾注 12
1.1.5 最も売れているバイオ医薬品 13
1.2 地域別の状況 14
1.2.1 バイオテクノロジー産業の企業数 14
1.2.2 ベンチャーキャピタルの投資総額 15
1.2.3 研究開発投資額 16
1.3 特許の取得状況 18
2 雇用に与える影響 22
2.1 概観 22
2.1.1 雇用数マクロトレンド 22
2.1.2 給与トレンド 24
2.2 医薬品 25
2.2.1 専門職へのアンケート結果 27
2.2.2 人材の需要と供給 28
2.3 医療機器 29
2.3.1 企業の求人・雇用トレンド 31
2.4 医療研究・臨床検査 31
2.5 州別のバイオテクノロジー産業の動向 34
3 資金調達の状況 38
3.1 株価の動向 38
3.2 IPO の状況 40
3.2.1 最近の主要バイオテクノロジー企業 IPO 40
3.2.2 2015 年主要バイオテクノロジー企業 IPO 43
3.3 追加公募の状況 45
3.4 ベンチャーキャピタル投資の状況 48
3.5 M&A 概況 52
3.6 今後の展望 55
4 FDA が承認したバイオ医薬品 57
4.1 FDA の承認について 57
4.1.1 FDA の承認体制 57

4.1.2 承認申請の種類 60
4.1.3 承認プロセス 61
4.1.4 FDA の優先審査プロセスとその種類 62
4.2 CDER 承認の一般医薬品、バイオ医薬品の概況 62
4.2.1 CDER による承認数合計の概況 62
4.2.2 オーファンドラッグ承認数の割合 63
4.2.3 バイオ医薬品承認数の割合 64
4.3 CBER 承認のバイオ医薬品概況 65
5 連邦政府関連の資金調達の状況 81
5.1 国立衛生研究所（NIH） 81
5.2 国立科学財団（NSF） 84
5.3 退役軍人省医療及び人工研究プログラム 87
5.4 公衆衛生安全保障予算 88
5.5 21 世紀治療法の成立 91
6 医療改革制度の影響 96
6.1 バイオシミラー承認 96
6.1.1 バイオシミラーを巡る特許訴訟 98
6.2 治療発見プロジェクトプログラム 100
6.3 医療保険加入義務の影響 101
6.4 医療機器税 102
7 先端医療の取り組み 104
7.1 ゲノム医療 104
7.1.1 ゲノムシークエンシングコストの低下 104
7.1.2 遺伝子関連技術ベンチャーへの投資拡大 105
7.1.3 遺伝子医療関連サービスの現状と傾向 107
7.1.4 米国連邦政府の遺伝子研究への取り組み 108
7.1.5 データベース整備 109
7.2 遺伝子治療 110
7.2.1 遺伝子治療 110
7.2.2 遺伝子治療に関する臨床試験の状況 110
7.3 癌治療 112
7.3.1 癌の疾病状況 112
7.3.2 連邦政府のイニシアチブ「Moonshot イニシアチブ」 113
7.3.3 癌研究に関する連邦予算 113
7.3.4 遺伝子編集 114
7.3.5 癌治療技術へのベンチャーキャピタル投資 114
7.4 再生医療・細胞治療 115

7.4.1 再生医療をめぐるエコシステム 115
7.4.2 市場動向 116
7.4.3 米国における研究開発予算 117
7.4.4 主要大学における再生医療研究開発センター 118
7.4.5 再生医療関連の疾病別・フェーズ別臨床試験数 120
7.4.6 21 世紀治療法による振興策 121
7.4.7 注目される細胞治療 122
7.4.8 細胞治療製品の市場状況 123

8 バイオテクノロジー産業に影響を与えた出来事 125
8.1 エボラ出血熱、ジカ熱の流行 125
8.2 パーソナル DNA 検査の台頭 128
8.3 Theranos 事件 130
8.4 バイオマニュファクチャリングの官民連携 131
8.4.1 Manufacturing USA 概要 131
8.4.2 NIIMBL 132
8.4.3 ATB-MII・ARMI 133
8.5 再生医療クリニック 135
8.6 自家調整検査（Laboratory Developed Test: LDT） 137
8.7 遺伝子ドライブ技術（Gene Drive） 138

9 バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）の動静 141
9.1 バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）概要 141
9.2 現在、取り組んでいる案件 145
9.2.1 最近のロビー活動の概要 145
9.2.2 21 世紀治療法と PATENT 法 147
9.2.3 メディケア償還システムへの反発 148
9.2.4 州政府に対するバイオシミラー承認法へのロビー 149
9.2.5 特許改革法案に対する反応 150
9.3 その他キャンペーン活動 150
9.3.1 「Innovation Saves」キャンペーン 150
9.3.2 NIH や NSF との活動 151
9.3.3 メンバー間ネットワークの促進 151
9.3.4 ジカ熱への対応 151
9.3.5 海外アウトリーチ活動 152

10 米国のライフサイエンス業界団体 153
10.1 再生医療同盟（Alliance for Regenerative Medicine: ARM） 153
10.1.1 創設とキーパーソン 153
10.1.2 団体概要 153

10.1.3 これまでの活動内容と最近の動向 153
10.2 米国研究製薬工業協会(Pharmaceutical Research and Manufactures of America: PhRMA) 154
10.2.1 創設とキーパーソン 154
10.2.2 団体概要 154
10.2.3 これまでの活動内容と最近の動向 155
10.3 癌免疫療法ソサエティー（Society for Immunotherapy of Cancer: SITC） 155
10.3.1 創設とキーパーソン 155
10.3.2 団体概要 155
10.3.3 これまでの活動内容と最近の動向 156
10.4 米国実験生物学会連合（Federation of American Societies for Experimental Biology: FASEB） 156
10.4.1 創設とキーパーソン 156
10.4.2 団体概要 157
10.4.3 これまでの活動内容と最近の動向 157
10.5 米国遺伝子細胞治療学会（American Society for Gene and Cell Therapy: ASGCT） 157
10.5.1 創設とキーパーソン 157
10.5.2 団体概要 158
10.5.3 これまでの活動内容と最近の動向 158
10.6 国際幹細胞学会（International Society for Stem Cell Research: ISSCR） 158
10.6.1 創設とキーパーソン 158
10.6.2 団体概要 159
10.6.3 これまでの活動内容と最近の動向 159
10.7 Biocom 159
10.7.1 創設とキーパーソン 159
10.7.2 団体概要 160
10.7.3 これまでの活動内容と最近の動向 160
10.8 マサチューセッツバイオテクノロジーカウンシル（Massachusetts Biotechnology Council: MassBio） 160
10.8.1 創設とキーパーソン 160
10.8.2 団体概要 161
10.8.3 これまでの活動と最近の動向 161
10.9 バイオヘルスイノベーション BioHealth Innovation（BHI） 161
10.9.1 創設とキーパーソン 161
10.9.2 団体概要 162
10.9.3 これまでの活動と最近の動向 162
10.10 ニューヨークバイオ（New York Bio） 162
10.10.1 創設とキーパーソン 162

10.10.2 団体概要 163
10.10.3 これまでの活動内容と最近の動向 163
10.11 テキサスヘルスケア＆バイオサイエンスインスティチュート（Texas Healthcare & Bioscience Institute: THBI） 163
10.11.1 創設とキーパーソン 163
10.11.2 団体概要 164
10.11.3 これまでの活動内容と最近の動向 164
10.12 バイオセンチュリー（BioCentury） 164
10.12.1 創設とキーパーソン 164
10.12.2 団体概要 164
10.12.3 これまでの活動内容と最近の動向 165

図表目次

図表 1: バイオテクノロジー産業分野別米国市場予測（2012 年 - 2020 年） 9
図表 2: 米国バイオテクノロジー企業数推移（2012 年 - 2015 年） 10
図表 3: コマーシャルリーダー17 社のリスト 10
図表 4: バイオテクノロジー企業収益上位 5 社比較（2015 年） 12
図表 5: 大手製薬各社のバイオ医薬品からの売り上げの変化率（2000 年 - 2012 年） 13
図表 6: 最も売れているバイオ医薬品（2014 年） 13
図表 7: 地域別 バイオテクノロジー産業の事業所数 14
図表 8: バイオテクノロジー企業へのベンチャーキャピタル投資額上位 15 都市（2013 年） 15
図表 9: バイオテクノロジー企業へのベンチャーキャピタル投資額上位 15 都市（2013 年実績） 16
図表 10: 州別の大学研究機関へのバイオテクノロジー研究開発費総額（2014 年）と 17
図表 11: バイオテクノロジー産業の人口 1 人当たりの研究開発費と 18
図表 12: 年別のバイオテクノロジー関連の特許取得件数（2012 年 - 2015 年） 19
図表 13: 分野別のバイオテクノロジー関連の特許取得状況（2012 年 - 2015 年） 20
図表 14: 州別のバイオテクノロジー産業関連特許取得件数（2012 年 - 2015 年） 21
図表 15: 全産業平均とバイオテクノロジー産業の雇用指数比較 23
図表 16: 米国におけるセクター別雇用伸び率（2001 年 - 2014 年） 23
図表 17: 米国のセクター別平均年収（2014 年） 24
図表 18: 全米合計に対する州別の医薬品サブセクターの雇用の割合と 2012 年 - 2014 年の雇用増減数 26
図表 19: 全米合計に対する州別の医療機器サブセクターの雇用の割合と 雇用増減数（2012 年 - 2014 年） 30
図表 20: 全米合計に対する州別の医療研究・臨床検査サブセクターの雇用の割合と 2012 年 - 2014 年の雇用増減数 33

図表 21: 州別バイオテクノロジー産業雇用増減（2001 年 - 2014 年）（2012 年 - 2014 年） 35
図表 22: 州別、バイオテクノロジー産業各セクターの 雇用統計の有無（2014 年）と雇用増（2012 年 - 2014 年） 36
図表 23: NASDAQ バイオインデックスの変遷（2011 年 - 2016 年）.....38
図表 24: Celgene、Gilead Science、Biogen、Amgen 各社の株価の変動推移（2012 年 - 2017 年）.....39
図表 25: 研究開発フェーズ別 IPO 件数と総額の推移（2006 年 - 2015 年） 41
図表 26: 疾患分野別の研究開発段階バイオテクノロジー関連企業 IPO 件数と総額（2006 年 - 2015 年） 42
図表 27: バイオテクノロジー企業 IPO 総額上位 10 社（2015 年） 43
図表 28: バイオテクノロジー産業関連企業の IPO および追加公募の推移 46
図表 29: 研究段階別、医薬品企業の追加公募の件数と金額（2006 年 - 2015 年） 47
図表 30: 米国製薬会社へのベンチャーキャピタルの投資推移（2006 年 - 2015 年）.....49
図表 31: 疾病分野別 米国の医薬品企業に対するベンチャーキャピタル投資の動向（2015 年） 50
図表 32: 疾病分野別 ベンチャーキャピタル投資の増減割合.....51
図表 33: 全世界におけるバイオ製薬企業 M&A の推移（2010 年 - 2015 年）.....52
図表 34: M&A 元企業と M&A 先企業の地域別の関係（2014 年と 2015 年の比較） 53
図表 35: 世界地域別 M&A 先総額の推移（2013 年 - 2015 年） 54
図表 36: 米国バイオテクノロジー企業が関与した主要な M&A（2015 年） 54
図表 38: FDA、医薬品・タバコ部の組織構成.....58
図表 39: CBER の組織改正イメージ（改正後：2016 年） 59
図表 40: CDER 承認の新薬数合計（一般医薬品・バイオ医薬品含む）（2007 年-2016 年） 63
図表 41: CDER 承認新薬全体に占めるオーファンドラッグの割合（2014 年 - 2016 年） 64
図表 42: CDER 承認新薬全体に占めるバイオ医薬品の割合（2014 年 - 2016 年）.....65
図表 43: バイオ医薬品承認総数（2014 年-2016 年）.....65
図表 44: 2014 年 CDER 承認のバイオ医薬品 全リスト 67
図表 45: 2014 年 CBER 承認のバイオ医薬品 全リスト.....69
図表 46: 2015 年 CDER 承認のバイオ医薬品 全リスト 72
図表 47: 2015 年 CBER 承認のバイオ医薬品 全リスト.....75
図表 48: 2016 年 CDER 承認のバイオ医薬品 全リスト 77
図表 49: 2016 年 CBER 承認のバイオ医薬品 全リスト 78
図表 50: NIH 予算推移（2000 年 - 2017 年）.....82
図表 51: NIH 研究所別予算の推移（2013 年 - 2016 年） 82
図表 52: NIH 研究所別予算の比較（2016 年） 84
図表 53: NSF 生物科学局の部門別予算推移.....87
図表 54: 退役軍人省 Medical and Prosthetic Research Program の予算推移（2015 年 - 2017 年）....88
図表 55: 連邦政府公衆衛生安全保障予算割合（2016 年）.....90
図表 56: 省庁別公衆衛生安全保障ライフサイエンス分野の予算推移（2011 年-2016 年） 90
図表 57: 21 世紀治療法プログラム別助成額 92

図表 58: 最も高価な医薬品ランキング 96
図表 59: FDA 承認されたバイオシミラー（2015 年、2016 年）..... 97
図表 60: BPCIA 訴訟一覧 99
図表 61: 雇用主提供による医療保険の被保険者の割合推移（2006 年 - 2015 年）..... 102
図表 62: ゲノム解析コストの推移（2001 年 - 2015 年）..... 104
図表 63: 遺伝子関連技術ベンチャーへの投資件数の推移（2012 年 - 2015 年）..... 105
図表 64: 主な投資家による遺伝子関連ベンチャーへの投資状況（2016 年）..... 106
図表 65: ゲノム医療適用の拡大例 107
図表 66: NIH 遺伝子研究関連予算（2012 年 - 2017 年）..... 108
図表 67: 次世代癌ナレッジネットワークによる疾患別 GDC データ格納数 109
図表 68: 遺伝子治療の国別臨床試験 110
図表 69: 疾患別遺伝子治療の臨床試験の割合（2016 年）..... 111
図表 70: 臨床試験フェーズ別　遺伝子治療数内訳 111
図表 71: 米国における癌の種類別の推定罹患率（2017 年）..... 112
図表 72: NIH 癌研究予算（2012 年 – 2017 年推定）..... 113
図表 73: 世界のベンチャーキャピタルによる癌治療企業への投資の推移（2011 年 – 2015 年）..... 114
図表 74: 最も投資を受けた癌治療企業上位 12 社（2011 年 - 2016 年）..... 115
図表 75: 再生医療に関係するステークホルダー群 116
図表 76: 世界各地域における再生医療関係企業数（2016 年）..... 117
図表 77: 再生医療関連の連邦予算の内訳（2012 年 - 2014 年）..... 118
図表 78: 米国の主要大学における再生医療研究センター 119
図表 79: 再生医療疾病別の臨床試験数（2016 年）..... 120
図表 80: 再生医療フェーズ別臨床実験数（2015 年と 2016 年比較）..... 121
図表 81: 細胞治療製品リスト 123
図表 82: 全世界におけるエボラ出血熱及びマールブルグ熱の研究費の推移（1997 年 - 2015 年）..... 126
図表 83: DNA 検査分野と検査を提供する企業の数とその割合 128
図表 84: DNA 検査を規制する連邦政府機関 129
図表 85: Theranos 事件のタイムライン 131
図表 86: NIIMBL メンバー機関分布図 133
図表 87: 遺伝子ドライブに関する累積論文件数（1960 年 - 2015 年）..... 138
図表 89: BIO International Convention のイベント会場の様子 141
図表 90: バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）メンバーの企業規模および事業分野（2017 年 1 月時点）..... 145
図表 91: BIO ロビー活動額推移（1998 年 - 2016 年）..... 146
図表 92: 政党別 BIO の献金額の推移（2000 年 - 2016 年）..... 147
図表 93: 州別バイオシミラー承認法成立状況（2013 年 - 2016 年）..... 149

1　2016 年米国バイオテクノロジー産業の概況

本章では、米国におけるバイオテクノロジー産業の概況を、バイオテクノロジー企業の状況、地域別の状況、特許件数、などの観点から俯瞰する。

1.1　概況

1.1.1　市場全体の概要と成長予測

バイオテクノロジー産業は経済の様々な分野で大きな革新を生み、ヘルスケア、エネルギー、農業などの分野にインパクトを与え続けている。本調査では、その中でもヘルスケアにフォーカスをあてた「バイオテクノロジー産業」[1]の 2016 年時点における米国の動向を取り上げる。

バイオテクノロジー産業は、人々の健康に大きな影響を及ぼし続けている。バイオテクノロジー関連業界団体大手のバイオテクノロジーイノベーション協会（Biotechnology Innovation Organization: BIO）[2]によると、C 型肝炎は治療不可能な病とされていたものが、今では治癒率が 90%[3]を上回り、癌による死亡率もピークであった 1991 年から 20%減少しており、バイオ医薬品が貢献しているという[4]。また、過去 20 年で新生児のワクチン接種により 73 万人の早期死亡が予防できるようにもなった[5]。一方で、その成長と平行し、ヘルスケア改革をめぐる不安定な状況や、連邦政府の開発投資費の減少など、様々な課題も浮かび上がってきている[6]。

調査会社 Grand View リサーチ社は、「Biopharmcetical」（バイオ医薬品）」「Bioservices(バイオサービス)」「Bioagriculture（バイオ農業）」「Bioindustrial（バイオ工業）」の 4 つの応用分野に分けてバイオテクノロジー産業の市場を予測している。グローバル市場は、とりわけ、ヘルスケア分野での新しい検査、治療方法などへの高い需要から、2012 年から 2020 年まで年間 12.3%で成長すると考えられている。

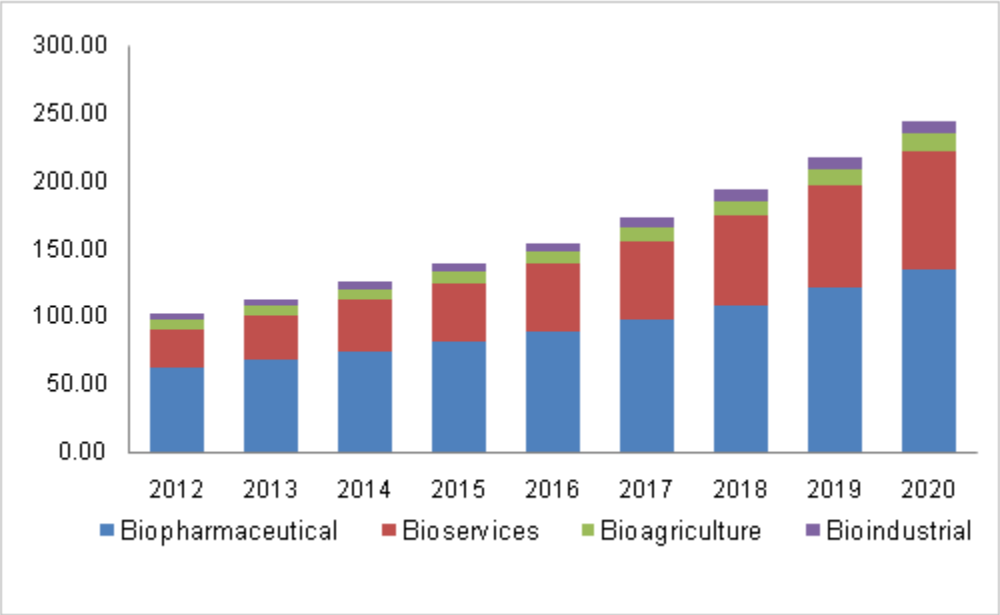
以下の図表は、応用分野別に米国における市場規模の予測を示したものである。これによると、バイオ医薬品やバイオサービスがバイオ関連市場の中で大部分を占めており、今後4つの応用分野全般に堅調な伸びを示すことがわかる[7]。

[1]本報告書では、バイオ医薬品、バイオ関連サービス、医療研究・臨床検査など医療・健康分野でのバイオ関連産業を包含する「バイオテクノロジー産業」を中心に解説する。英語では、bioscience, biomedical, biohealth などと多様な表現が用いられるが、ここでは、biotechnology（バイオテクノロジー）産業として統一して用いる。今回取り上げる報告書では、農業や環境分野でのバイオ関連業界は含まないこととする。また、企業については、バイオテク企業、バイオテクノロジー企業、バイオベンチャーなどと呼ぶ。
[2] https://www.bio.org/
[3] https://www.fda.gov/ForConsumers/%20ConsumerUpdates/ucm405642.htm
[4] National Cancer Institute, Surveillance Epidemiology and End Results
[5] http://www.nytimes.com/2015/09/15/science/732000-american-lives-saved-by-vaccination.html
[6] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[7] http://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/biotechnology-market

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 1: バイオテクノロジー産業分野別米国市場予測(2012 年 - 2020 年)

(単位:10 億ドル)



出典: Grand View Research[8]

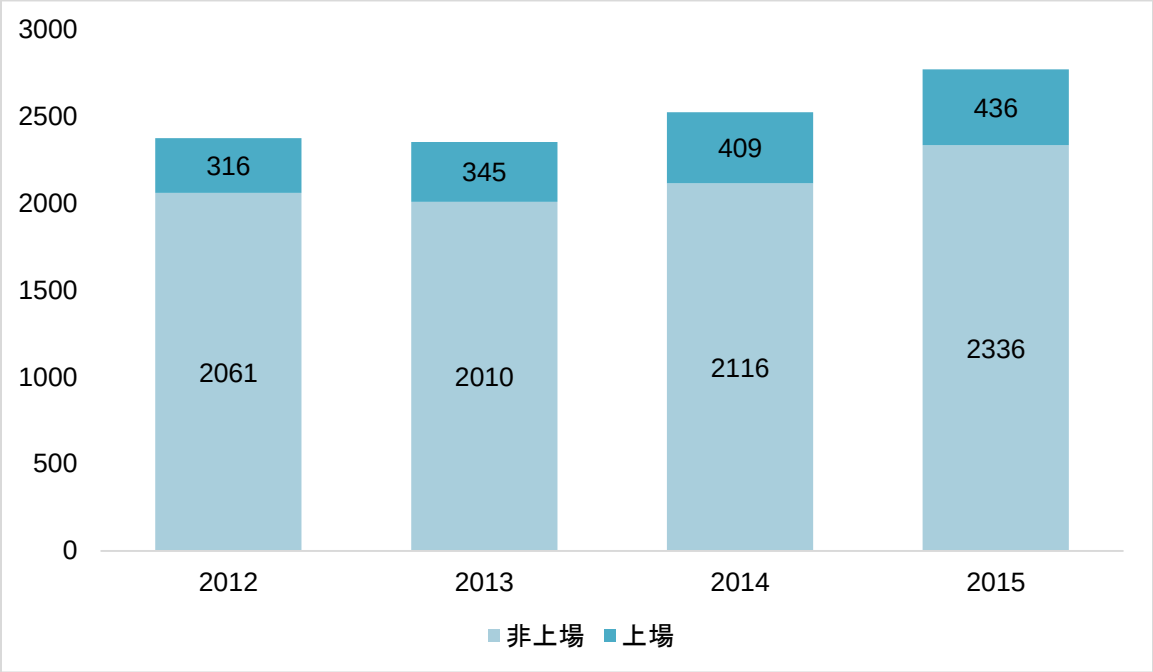
1.1.2 バイオテクノロジー企業数推移

米国のバイオテクノロジー企業は、上場企業が少なく、非情報企業が大多数を占めている。以下の図表は、2012 年から 2015 年における、米国の上場・非上場バイオテクノロジー産業企業数の推移を表している。この期間における米国のバイオテクノロジー産業企業数は、概して漸増傾向にあった。上場および非上場の企業数は、2012 年には 2,377 社であったが、2015 年には 395 社増え 2,772 社となり、17%増加した。そのうち上場企業数については、316 社から 120 社増の 436 社、増加率は 38%であった。

[8] http://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/biotechnology-market

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 2: 米国バイオテクノロジー企業数推移(2012 年 - 2015 年)



出典: EY の資料を基にワシントンコア作成[9]

1.1.3 コマーシャルリーダー

米国のバイオテクノロジー産業は、一握りの主要企業によって牽引されている。コンサルティング会社のアーンスト・ヤングは、年間 5 億ドル以上の収益を得ている企業を、「Commercial Leaders (コマーシャルリーダー)」と呼んでおり、これらのコマーシャルリーダーが市場の成長を担っている。2015 年時点でコマーシャルリーダーとされる企業は以下の 17 社となっている。

図表 3: コマーシャルリーダー17 社のリスト

会社名	本社	創業年	主力製品
Alexion	コネティカット州 ニューヘイブン	1992	Soliris, Strensiq, Kanuma
Amgen	カリフォルニア州 サウザンドオーク	1980	Aranesp, Blincyto, Corlanor, Enbrel, Epogen など
Biogen	マサチューセッツ州 ケンブリッジ	1978	Alprolix, AvonexEloctate, Fampyra, Gazyva, Plegridy, Rituxan, Tecfidera, Tysabri など
BioMarin Pharmaceuticals	カリフォルニア州 サンラファエル	1997	Vimizim, Kuvan, Naglazyme, Aldurazyme, Firdapse など
Bio-Rad Laboratories	カリフォルニア州 ハーキュリーズ	1952	サイエンス研究、臨床診断など
Celgene	ニュージャージー州 サミット	1986	Alkeran, Alkeran, Thalomid, Thalomid, Focalin など

[9] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

会社名	本社	創業年	主力製品
Cepheid	カリフォルニア州 サニーベイル	1996	GeneXpert System
Emergent BioSolutions	メリーランド州 ゲイザーズバーグ	1998	Bio Thrax, Anthrasil など
Gilead Sciences	カリフォルニア州 フォスターシティー	1987	AmBisome, Atripla, Cayston, Emtriva, Flolan など
IDEXX Laboratories	メイン州 ウェストブルック	1983	Catalyst Dx Chemistry Analyzer, Symmetric dimethylarginine (SDMA), Colilert など
Illumina	カリフォルニア州 サンディエゴ	1998	Golden Gate Methylation, Infinium methylation, DNA sequencing
Incyte Corporation	デラウェア州 ウィルミントン	1991	JAK1 and JAK2 inhibitor drug for rheumatoid arthritis, epacadostat, capmatinib
Medivation	カリフォルニア州 サンフランシスコ	2004	Xtandi
Myriad Genetics	ユタ州 ソルトレークシティー	1991	BRACAnalysisCDx, Myriad myRisk, BRACAnalysis, COLARIS など
Regeneron Pharmaceuticals	ニューヨーク州 タリータウン	1988	PRALUENT, EYLEA, ARCALYST
United Therapeutics	メリーランド州 シルバースプリング	1996	Adcirca, orenitram, REMODULIN, TYVASO など
Vertex Pharmaceuticals	マサチューセッツ州 ボストン	1989	ORKAMBI, kalydeco など

出典: EY の資料を基にワシントンコア作成[10]

コマーシャルリーダーの中でも、1987 年に設立されカリフォルニアに拠点を置く Gilead Sciences 社（以下:Gilead 社）が米国のみならずグローバル市場も牽引しており、米国のバイオテクノロジー産業市場の売上高全体の 30%を占めている。この Gilead 社を筆頭に、Amgen 社、Biogen 社、Celgene 社、Regeneron Pharmaceuticals 社の 5 社で米国バイオテクノロジー市場売上高全体の 4 分の 3、グローバル市場売上高全体の半分以上を優に占めており、市場を席巻している。純利益においては、Gilead 社は 181 億ドルを計上しており、その数字は、純利益を計上した Gilead 社以外の米国内の 49 社を足した 163 億ドルよりも大きい。しかし、Gilead 社とそれらの 49 社の純利益を合計しても、米国内のバイオテクノロジー市場全体の 11%である。市場全体の残り 89%の製品を供給する企業は 189 億ドルの純損失を出しており、この純損益のうち 16 億ドルは新規公開企業から計上されている。米国全体の純利益額は 155 億ドル（181 億ドル＋163 億ドル－189 億ドル）となっている[11]。

コマーシャルリーダーとされる 5 社は、2011 年から 2015 年にかけての時価総額の増加幅でも上位を占めている。以下図表に、上位 5 社の 2015 年収益、研究開発投資額、純利益を示した。

[10] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
[11] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 4: バイオテクノロジー企業収益上位 5 社比較（2015 年）

社名	創業年	本社	収益（前年比）	研究開発投資額（前年比）	純利益（前年比）	2011-15 年時価総額差額
Gilead Sciences	1987	カリフォルニア フォスター	326 億ドル（31%増）	30 億ドル（6%増）	181 億ドル（50%増）	1,164 億ドル
Amgen	1980	カリフォルニア サウザンドオークス	216 億ドル（8%増）	42 億ドル（7%減）	69 億ドル（35%増）	705 億ドル
Celgene	1986	ニュージャージー サミット	93 億ドル（21%増）	37 億ドル（61%増）	16 億ドル（20%減）	663 億ドル
Regeneron Pharmaceuticals	1988	ニューヨーク イーストビュー	41 億ドル（46%増）	16 億ドル（27%増）	6 億ドル（83%増）	543 億ドル
Biogen	1978	マサチューセッツ、ケンブリッジ	108 億ドル（11%増）	20 億ドル（6%増）	35 億ドル（21%増）	523 億ドル

出典: EY[12]と複数[13]の資料を基にワシントンコア作成

1.1.4 製薬会社によるバイオ医薬品への傾注

マッキンゼーの 2014 年 12 月の報告書「Rapid Growtn in biopharma, Challenges and Opportunities」によると、バイオ医薬品メーカーは 2014 年時点で医薬品市場全体の約 20%にあたる 1,630 億ドルを売り上げていると言う。2014 年の時点で、バイオ医薬品市場の年間成長率は 8%であり、従来型製薬市場の伸び率の 2 倍であると分析している[14]。

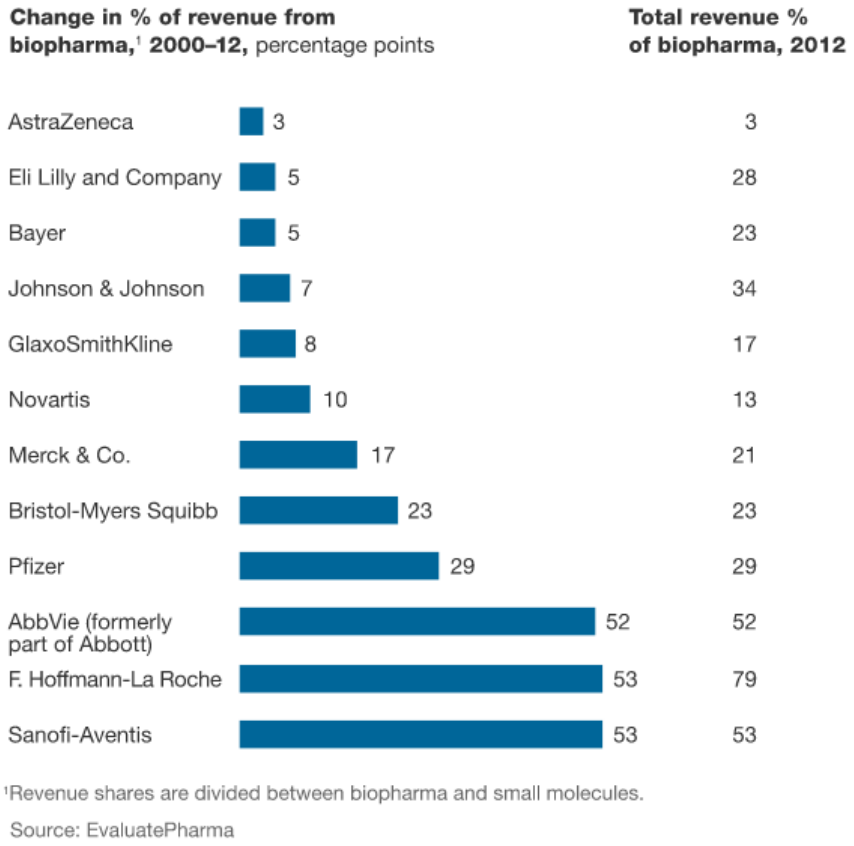
バイオ医薬品市場の伸びは、大手製薬会社によるバイオ医薬品事業への傾注を反映している。バイオ医薬品はその有効性や安全性が高く、また、今まで治療が不可能であった疾患への治療などを可能にしたため、需要が力強く、高い価格で販売されている。年間売り上げ 10 億ドルを超える、市場効果の高いブロックバスターバイオ医薬品もかつてない程の数になっており、年間売り上げ 20 億ドルを超えるものも少なくない。世界中の大手製薬会社は、低分子から、高分子のバイオ医薬品研究開発へシフトしており、売り上げ増加への挑戦が続いている[15]。

以下の図表は、2000 年から 2012 年における、大手製薬各社のバイオ医薬品からの売り上げの変化率を示している。

[12] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
[13] https://www.statista.com/topics/1634/biotechnology-industry/ (Top 10 changes in market capitalization among U.S. biotech companies between 2011 and 2015)
[14]
[15] http://www.mckinsey.com/industries/pharmaceuticals-and-medical-products/our-insights/rapid-growth-in-biopharma

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 5: 大手製薬各社のバイオ医薬品からの売り上げの変化率（2000 年 - 2012 年）



出典: McKinsey&Company 社[16]

1.1.5 最も売れているバイオ医薬品

以下の図表は、「ブロックバスター」と呼ばれる年間売り上げ 10 億ドル以上のバイオ医薬品の売り上げランキング上位 10 品目である。

図表 6: 最も売れているバイオ医薬品（2014 年）

	バイオ医薬品名	主な薬効	メーカー	薬の売り上げ	メーカーの総売り上げ
1	Humira	• リウマチ性関節炎尋常性乾癬 • クローン病	AbbVie	125 億ドル	200 億ドル
2	Remicade	• リウマチ性関節炎尋常性乾癬 • クローン病	Johnson & Johnson	92 億ドル	743 億ドル
3	Rituxan	• リウマチ性関節炎非ホジキンリンパ腫 • 慢性リンパ性白血病	Biogen Roche	87 億ドル	582 億ドル
4	Enbrel	• リウマチ性関節炎若年性特発性関節炎 • 乾癬性関節炎	Amgen	85 億ドル	201 億ドル
5	Lantus	• 糖尿病	Sanofi	73 億ドル	376 億ドル
6	Avastin	• 神経膠芽細胞腫	Roche	70 億ドル	485 億ドル

[16] http://www.mckinsey.com/industries/pharmaceuticals-and-medical-products/our-insights/rapid-growth-in-biopharma

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

	バイオ医薬品名	主な薬効	メーカー	薬の売り上げ	メーカーの総売り上げ
		• 結直腸癌 • 非小細胞性肺癌			
7	Herceptin	• 乳癌 • 転移性胃癌	Roche	68 億ドル	485 億ドル
8	Neulasta	• 化学療法中の感染症	Amgen	59 億ドル	201 億ドル
9	Prevnar	• 肺炎球菌性肺炎	Pfizer	45 億ドル	496 億ドル
10	Avonex	• 多発性硬化症	Biogen	30 億ドル	97 億ドル

出典: The Balance[17]

1.2 地域別の状況

最近のバイオテクノロジー産業の状況を地域別に、企業数、ベンチャーキャピタルの投資状況、研究開発費の観点から比較する。

1.2.1 バイオテクノロジー産業の企業数

以下の図表が示す通り、地域別のバイオテクノロジー産業関連企業の事業所数から見ると、ロサンゼルスエリアが最も多く、ボストンエリア、ニュージャージー州、メリーランド州、ワシントン D.C.のエリアが続いている。ここに掲載されている地域は、後述するバイオテクノロジー産業へのベンチャーキャピタルからの投資や研究開発投資についての地域別データでも名を連ねる地域である。

図表 7: 地域別 バイオテクノロジー産業の事業所数

地域	事業所数
1. ロサンゼルスエリア（カリフォルニア州）	3,059
2. ボストンエリア（マサチューセッツ州）	2,136
3. ニュージャージー州	1,712
4. メリーランド州・ワシントン D.C.周辺エリア	1,656
5. サンフランシスコベイエリア（カリフォルニア州）	1,601
6. フィラデルフィア（ペンシルバニア州）	1,573
7. シカゴ（イリノイ州）	1,482
8. サンディエゴ（カリフォルニア州）	1,414
9. デンバー（コロラド州）	1,190
10.ニューヨーク（ニューヨーク州）	1,074
11. シアトルエリア（ワシントン州）	959
12. ノースカロライナ州	929

出典：Jones Lang LaSalle Incorporated[18]を基にワシントンコア作成

[17] https://www.thebalance.com/top-biologic-drugs-2663233
[18] Life Sciences Outlook United States 2016
http://www.us.jll.com/united-states/en-us/Research/US-Life-Sciences-Outlook-2016-JLL.pdf?a162afbf-c305-4ea4-815c-6ac532bac09f

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

1.2.2 ベンチャーキャピタルの投資総額

2013 年、ベンチャーキャピタルによるバイオテクノロジー産業への投資総額は、45 億ドルであった。ベンチャーキャピタルの投資状況を都市別で見ると、地域間に大きな差ができていることがわかる。以下の図表はバイオテクノロジー企業へのベンチャーキャピタル投資額（総額 45 億ドル）上位 15 都市をまとめたものである。

サンフランシスコとボストン・ケンブリッジが 2 大地域で、3 位サンディエゴと大きく差が開いている。この上位 3 都市で、投資総額の半分以上を占めている。その後、4 位ワシントン D.C.、5 位オークランド、6 位以下には、シアトル、ニューヨーク、フィラデルフィア、ニュージャージー州北部、ノースカロライナ州、シンシナティ、デンバー、ニューヘイブン（コネティカット州）、ロサンゼルス、シカゴと続く[19]。オークランドはサンフランシスコに近接しており、サンフランシスコベイエリアとして見ると、その地域への投資割合はさらに大きくなる。このように、ベンチャーキャピタルの投資額から見ると、地域間に大きな差ができている。

図表 8: バイオテクノロジー企業へのベンチャーキャピタル投資額上位 15 都市（2013 年）

都市名	投資額（単位：100 万ドル）
1. サンフランシスコ（カリフォルニア州）	1,150
2. ボストン・ケンブリッジ（マサチューセッツ州）	934
3. サンディエゴ（カリフォルニア州）	387
4. ワシントン D.C.	320
5. オークランド（カリフォルニア州）	262
6. シアトル（ワシントン州）	238
7. ニューヨーク（ニューヨーク州）	135
8. フィラデルフィア（ペンシルバニア州）	133
9. ニュージャージー州北部（ニュージャージー州）	132
10. ローリー・ダーラム（ノースカロライナ州）	118
11. シンシナティ（オハイオ州）	61
12. デンバー（コロラド州）	52
13. ニューヘイブン（コネティカット州）	50
14. ロサンゼルス（カリフォルニア州）	46
15. シカゴ（イリノイ州）	41

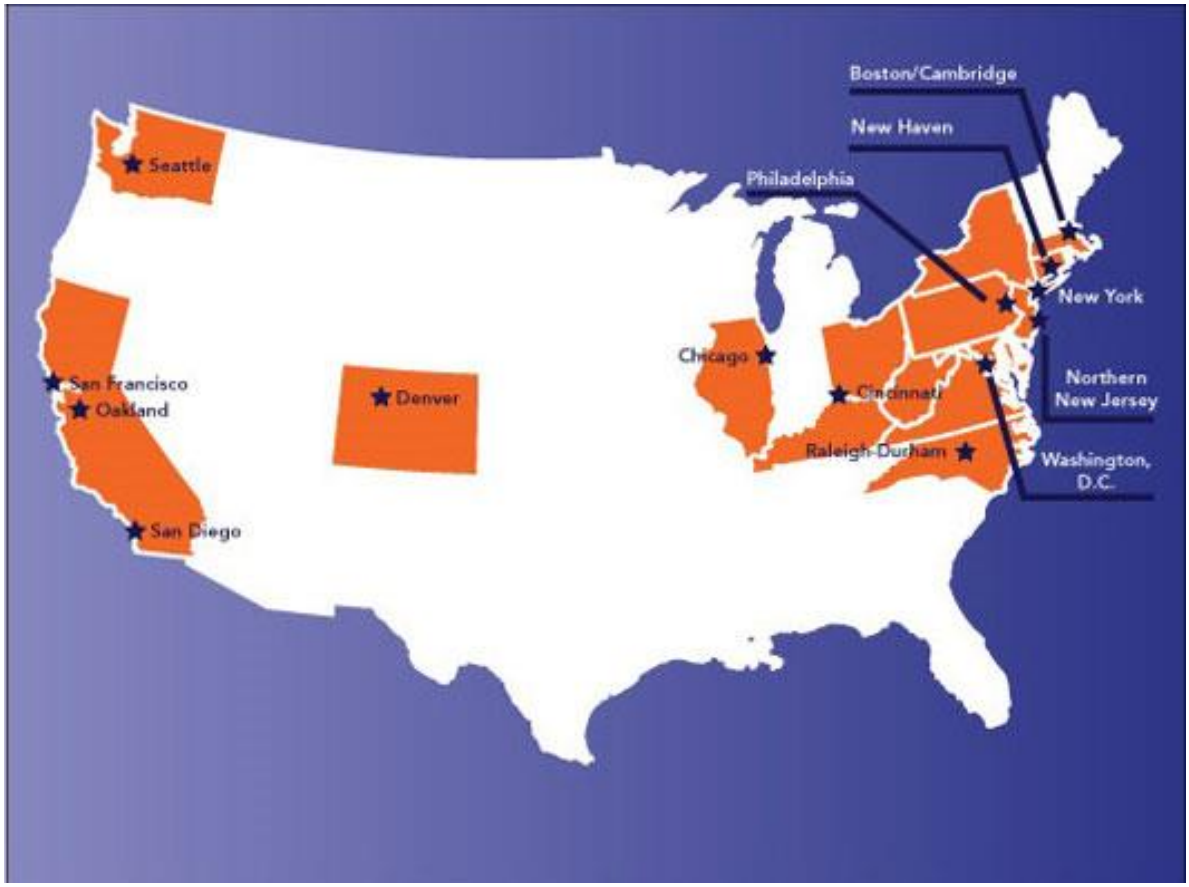
出典：Fierce Biotech[20]を基にワシントンコア作成

以下図表は、バイオテクノロジー産業へのベンチャーキャピタル投資額上位 15 都市を地図上に示したものである。東海岸と西海岸に集中しているのがわかる。

[19] http://www.fiercebiotech.com/venture-capital/top-15-cities-for-biotech-venture-funding
[20] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 9: バイオテクノロジー企業へのベンチャーキャピタル投資額上位 15 都市（2013 年実績）



出典：Fierce Biotech[21]

1.2.3 研究開発投資額

米国の多くの地域で、バイオテクノロジー産業関連の研究開発に大学機関が重要な役割を担っている。研究開発費の総額は、2014 年には 389 億ドルにのぼっている。地域別では、カリフォルニア州、ニューヨーク州、テキサス州、ペンシルベニア州、ノースカロライナ州には複数の研究機関が揃い、大学だけの研究開発費でも 20 億ドルにのぼっている[22]。

以下の図表は、州別の 2014 年の大学研究機関へのバイオテクノロジー研究開発費総額と、2012 年から 2014 年にかけての増加率を示している。

[21] http://www.fiercebiotech.com/venture-capital/top-15-cities-for-biotech-venture-funding
[22] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 10: 州別の大学研究機関へのバイオテクノロジー研究開発費総額(2014 年)と増加率(2012 年 - 2014 年)

(左表:州別の 2014 年の大学研究機関のバイオテクノロジー研究開発費総額、
右表:2012 年 - 2014 年の同増加率)

州	研究開発費総額(単位:1,000ドル)
カリフォルニア州	5,119,062
ニューヨーク州	3,634,138
テキサス州	3,011,942
ペンシルベニア州	2,061,958
ノースカロライナ州	2,049,435
メリーランド州	1,668,335
マサチューセッツ州	1,515,537
イリノイ州	1,396,626
オハイオ州	1,318,183
ミシガン州	1,214,255

州	増加率(単位:%)
ネバダ州	36.0
テネシー州	17.0
ユタ州	16.9
ジョージア州	16.1
ロードアイランド州	16.1
メイン州	14.0
コネティカット州	10.3
ワシントン州	9.5
デラウェア州	9.3
ノースダコタ州	8.7

出典:TEConomy/BIO[23]

州別の人口 1 人当たりの研究開発費では、2 つの大学研究機関を有するワシントン D.C.が群を抜いている。2 位以下は、メリーランド州、マサチューセッツ州、コネティカット州、ノースカロライナ州であり、また、マサチューセッツ州とミネソタ州の 2 州は、科学技術関連研究開発費におけるバイオテクノロジー産業の研究開発の比重が特に高い[24]。

[23] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[24] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 11: バイオテクノロジー産業の人口 1 人当たりの研究開発費と科学技術関連研究開発費に占める割合（2014 年）

（左表：州別の人口 1 人当たりの研究開発費、右表：科学技術関連研究開発費に占めるバイオテクノロジー産業の割合）

州	人口 1 人当たりの研究開発費(単位：ドル)
ワシントン D.C.	488.55
メリーランド州	279.20
マサチューセッツ州	224.35
コネティカット州	223.23
ノースカロライナ州	206.17
ニューヨーク州	184.02
ロードアイランド州	162.53
ペンシルベニア州	161.17
アイオワ州	159.12
ネブラスカ州	158.13

州	割合（%）
マサチューセッツ州	83.3
ミネソタ州	82.9
デラウェア州	79.1
コネティカット州	77.7
ニューハンプシャー州	75.7
ニュージャージー州	74.8
カリフォルニア州	71.3
インディアナ州	70.1
メリーランド州	70.0
ロードアイランド州	69.8

出典：TEConomy/BIO[25]

1.3 特許の取得状況

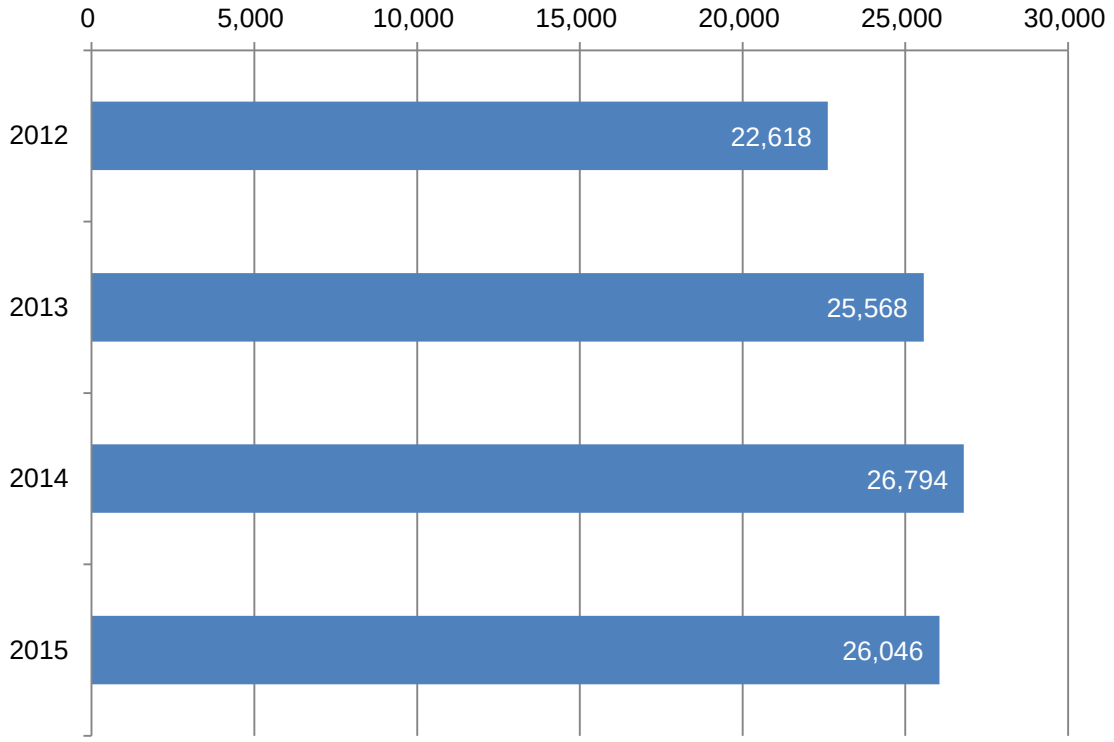
OECD によると、バイオテクノロジー産業企業の特許の割合は、米国が 37.2%、続いて EU が 28.1%、日本が 11.9%を占めており、米国企業が世界の技術開発進歩を牽引している[26]。以下の図表が示す通り、2012 年から 2015 年の間で、米国のバイオテクノロジー産業関連の特許取得件数は総じて増加傾向である。2015 年は、前年よりもわずかに減少したが、この 4 年間で約 15%の増加を記録した[27]。

[25] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[26] http://www.oecd.org/sti/inno/keybiotechnologyindicators.htm
[27] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 12: 年別のバイオテクノロジー関連の特許取得件数（2012 年 - 2015 年）

（単位: 件）



出典：TEConomy/BIO[28]

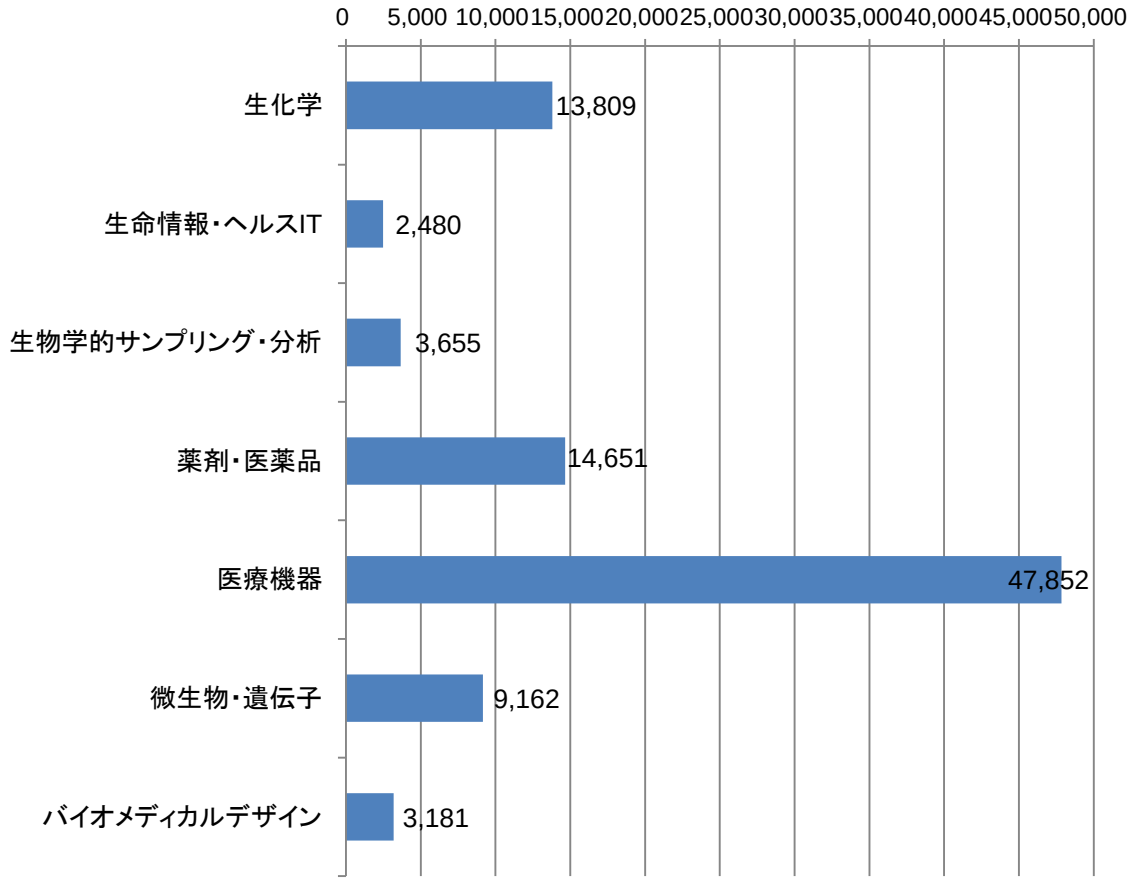
また、その中でもバイオテクノロジー分野が米国の特許獲得数を席巻している。以下の図表が示す通り、2012 年から 2015 年の期間で、バイオテクノロジー産業分野で取得された特許、約 9 万 4,800 件のうち、医療関連機器の特許は約 4 万 7,800 件と半分以上を占めた。増加傾向が著しい分野は、増加率 44%の薬剤・医薬品、同 43%のバイオメディカルデザインである[29]。

[28] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[29] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 13: 分野別のバイオテクノロジー関連の特許取得状況（2012 年 - 2015 年）

（単位: 件）



出典：TEConomy/BIO[30]

州別のバイオテクノロジー産業関連の特許取得状況を以下の図表に示した。図表によると、2012 年から 2015 年のバイオテクノロジー産業関連特許取得総数は、カリフォルニア州が約 3 万件と最も多く、その後にマサチューセッツ州、ミネソタ州、ニュージャージー州と続いている。各州の人口 100 万人あたりの件数では、マサチューセッツ州、ミネソタ州、デラウェア州、コネティカット州が上位となっている。カリフォルニア州、マサチューセッツ州、ミネソタ州、ニュージャージー州の 4 州が、特許件数の総数および人口比ともに、技術力の高い州と言える。一方、州の人口規模は小さいものの、技術力が高いと評価できるのは、デラウェア州、コネティカット州、ニューハンプシャー州、インディアナ州、メリーランド州、ロードアイランド州が挙げられる[31]。

[30] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[31] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 14: 州別のバイオテクノロジー産業関連特許取得件数（2012 年 - 2015 年）

左表: 総件数、右表: 人口 100 万人当たりの件数

州	件数
カリフォルニア州	29,992
マサチューセッツ州	10,777
ミネソタ州	7,064
ニュージャージー州	7,052
ペンシルバニア州	6,754
ニューヨーク州	6,520
フロリダ州	4,904
テキサス州	4,521
オハイオ州	4,438
イリノイ州	4,414

州	人口 100 万人あたり件数
マサチューセッツ州	1,586
ミネソタ州	1,287
デラウェア州	1,056
コネティカット州	981
ニューハンプシャー州	891
ニュージャージー州	787
カリフォルニア州	766
インディアナ州	606
メリーランド州	588
ロードアイランド州	568

出典：TEConomy/BIO[32]

[32] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

2　雇用に与える影響

本章では、米国内におけるバイオテクノロジー産業の雇用状況、給与トレンド、セクター別の雇用状況、州別の雇用状況などを中心に解説している。

2.1　概観

バイオテクノロジー産業は、2000 年代はじめから半ばにかけて米国経済を牽引してきた。その後 2008 年から 2009 年の金融危機のあおりを受けて雇用は減少したものの、全産業平均と比較してみるとその影響は限定的であった。2016 年現在、景気後退で減少した雇用は回復している。

本章では BIO/TEConomy の統計データに沿い、医薬品、医療機器、医療研究・臨床検査、農業原料・農薬とバイオ関連流通の 5 つのサブセクターを総合して、バイオテクノロジー産業と呼ぶ[33]。この統計によると、2012 年から 2014 年の間に全米 35 州でバイオテクノロジー産業の雇用が増加し、同産業の 166 万人の雇用の波及効果により他の産業の 753 万人の雇用を間接的に生んでいる[34]。

5 つのサブセクターの中でも、医薬品、医療機器、医療研究・臨床検査の 3 つのサブセクターの雇用統計を合わせると次のことが明らかになった[35]。

- 2014 年の雇用は、約 38,000 事業所[36]のおよそ 112 万 6,000 人にのぼった。
- 2014 年は、3つのサブセクターのいずれにおいても雇用が増加した。
- 他のセクターに比べて平均年収の水準が高いだけでなく、伸び率も高い。医薬品と医療研究・臨床検査サブセクターの平均年収は約 10 万ドルで、全産業の中でトップである。

2.1.1　雇用数マクロトレンド

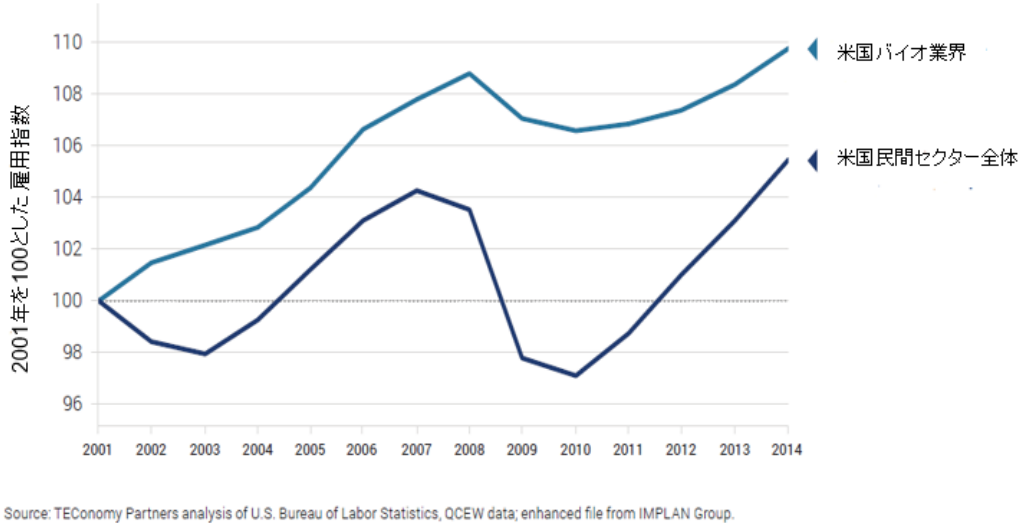
バイオテクノロジー産業は、イノベーション活動を基軸として全米各州で長年にわたり質の高い雇用を生み出してきた。2008 年から 2009 年の金融危機時にわずかに減少したが、深刻な景気後退が終わった 2009 年からは 4 年連続で雇用を伸ばしている。2014 年の米国バイオテクノロジー産業全体の雇用は、7 万 7,000 事業所以上の 166 万人であった。景気後退からの回復は、バイオテクノロジー産業と全産業平均とでは大きく異なる道をたどった。以下の図表からわかるように、全産業平均で雇用が大幅に減少した 2009 年から 2010 年にかけて、バイオテクノロジー産業の雇用減少は 2%にすぎなかった。また、バイオテクノロジー産業は、全産業平均に比べて、雇用が速やかに景気後退前の水準まで回復し、さらに増加して

[33] 他章と異なり、便宜上、第2章では農業とバイオ関連流通も含めてバイオテクノロジー産業と呼ぶ。
[34] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[35] 同上
[36] 事業所（establishment）とは、事業を行う拠点のことである。https://www.bls.gov/bls/glossary.htm#establish1ment

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

いった。2000 年代初期の力強い雇用の伸びも他の全産業平均から抜きん出ている。さらに、2012 年からのバイオテクノロジー産業の雇用の伸びは 2.2%であった[37]。

図表 15: 全産業平均とバイオテクノロジー産業の雇用指数比較



出典:TEConomy/BIO[38]

2001 年から 2014 年までの 15 年間で、バイオテクノロジー産業の雇用増加率はおよそ 10%であり、14 万 7,000 人の雇用増となった。米国の全産業平均に比べて成長が速いだけでなく、金融・保険、航空宇宙、コンピュータ周辺機器など他の専門性の高い産業と比べても、大きく成長している。以下の図表に示している通り、ソフトウェアおよびコンピュータサービスには及ばないものの、バイオテクノロジー産業は、バイオインフォマティクス、ヘルスインフォメーション技術、プレシジョン農業といったソフトウェア・コンピュータサービス産業で用いられる技術を利用することが近年増えてきており、両者の関連性は高まりつつある。

図表 16: 米国におけるセクター別雇用伸び率(2001 年 - 2014 年)

セクター	雇用伸び率(%)
ソフトウェア・コンピュータサービス	27.3
バイオテクノロジー	**9.7**
全産業平均	**5.4**
金融・保険	-0.2
航空宇宙製品・部品	-3.8
コンピュータ周辺機器	-47.4

出典:TEConomy/BIO[39]

[37] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[38] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[39] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

バイオテクノロジー関連企業が所有または運営する事業所数は、2001 年からおよそ 25%、2012 年からは 5.7%増加している。バイオテクノロジー関連企業の事業所あたりの平均従業員数は 21 人以上であり、全産業平均である 13 人と比べて多い[40]。

2.1.2 給与トレンド

労働条件の良い雇用の多くが生み出されるバイオテクノロジー産業は、米国内外から経済成長のけん引役として期待されている。バイオテクノロジー産業の平均年収水準は他のセクターに比べて常に高いうえ、上昇率も高い。その理由として、イノベーションを生み出すために必要な高いレベルの教育とスキルを持つ人材が求められていることが挙げられる。科学、技術、工学、数学（STEM）関連分野に精通した人材の重要性が高まる中、バイオテクノロジー産業をはじめとしたイノベーション産業においては特に、他のセクターと争って知識のある人材を確保し続けなければならない。バイオテクノロジー産業全般で、検査技師、IT 専門家、エンジニア、科学者、経営者、営業、生産ラインの技術者など、それぞれ多様な要件を必要とする職種の人材が求められている[41]。

米国のバイオテクノロジー産業の就業者の平均年収は 2014 年、9 万 4,543 ドルに達した。以下の図表からもわかる通り、これは米国全産業の平均年収に比べて 4 万 3,000 ドル高い。この差は 2001 年以降、ますます広がる傾向にある。金融・保険や情報、専門・技術サービスなどの専門性の高い産業に比べても、バイオテクノロジー産業の平均年収は高い。医薬品セクターの平均年収は 11 万 7,000 ドルであり、セクター別で最高額である。それに続き医療研究・臨床検査の平均年収が 9 万 7,485 ドルとなっている[42]。

図表 17: 米国のセクター別平均年収（2014 年）

雇用セクター	平均年収（単位ドル）
医薬品	117,524
医療研究・臨床試験	97,485
金融・保険	97,373
バイオテクノロジー平均	**94,543**
情報	90,804
バイオ関連流通	90,458
専門及び技術サービス	86,391
農業原料・農薬	80,640
医療機器	79,537
製造業	62,977
建設業	55,040
不動産・レンタル・リース	51,808
全産業平均	**51,148**
運輸・倉庫	48,720
ヘルスケア・社会的支援	45,859

[40] 同上
[41] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[42] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

小売業	28,743

出典:TEConomy/BIO[43]

バイオテクノロジー産業においては、他のセクターに比べて平均年収が高いだけでなく、年収の増加率も、2001 年以降は他のセクターより高い。2001 年から 2014 年の期間に、全産業の実質平均年収(インフレ調整後)が 6%伸びたのに対し、バイオテクノロジー産業は全体で 19%伸びている。尚、バイオテクノロジー産業のサブセクター別の実質平均年収の伸びは、医薬品が 25%、医療研究・臨床検査が 20%、医療機器が 15%だった[44]。

以下で、バイオテクノロジー産業の、医薬品、医療機器、医療研究・臨床検査の 3 サブセクターそれぞれの雇用について詳しく見ていく。

2.2 医薬品

バイオ医薬品企業は、米国における医療保険償還システムにおいて、医療の質を重視する「バリューベース」[45]と呼ばれる考えへの対応を迫られている[46]。「バリューベース」のヘルスケアが本格的に導入された場合、自ら開発する医薬品への償還が期待できない可能性があり、このことが長期的な開発投資を控える要因になるという見方がある。一方で、バイオシミラー[47]が FDA で 2015 年 3 月より承認されるようになり[48]、これはバイオ医薬品企業にとってビジネスチャンスとなっている。また、免疫の仕組みを利用した癌治療や、遺伝子編集技術を応用した希少疾病予防など、新しい技術が新薬開発を加速している。2015 年には 2014 年に続き 2 年連続で 40 以上の新薬が FDA に承認され、そのうち 21 品目がオーファンドラッグ(希少疾病医薬品)であった[49]。医薬品サブセクターの企業は、医薬品や診断用薬物を製造し、研究開発に大規模な投資を行う大手多国籍企業に代表される。代表的な製品は、バイオ医薬品、ワクチン、標的疾患治療薬、組織・細胞培養培地、皮膚疾患・局所治療薬、診断用薬物、動物用ワクチン、治療薬などである。代表的な医薬品企業は、アルファベット順に AbbVie 社、Amgen 社、Biogen Idec 社、Bristol-Myers Squibb 社、

[43] 同上
[44] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[45] バリューベースのヘルスケア(Value-based Care)とは、医療従事者から患者へ提供されるヘルスケアにおいて、「量」よりも「質」を重視し、その「質」を基に換算される対価を医療従事者が受け取る仕組みのこと。この仕組みには、大きく分けて、①個人個人へのより良いケア、②集団へのより良いケア、③コスト削減の 3 つの目的がある。
https://www.cms.gov/Medicare/Quality-Initiatives-Patient-Assessment-Instruments/Value-Based-Programs/Value-Based-Programs.html
サービスの「量」に対して支払う現在のヘルスケアシステムでは、医療従事者が不必要にサービスを追加してコストを上げる動機が働くため、患者にとってはバリューベースの導入により、より安全・適切・効果的なケアを受けられるという利点がある。
http://www.dartmouth-hitchcock.org/about_dh/what_is_value_based_care.html
[46] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[47] バイオシミラーとは、既に承認されたバイオ医薬品(参照製品)と高度に類似していることを示すことで承認されるバイオ医薬品である。
[48] http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm436648.htm
[49] https://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM485053.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

Celgene 社、Eli Lilly & Co. 社、Genentech 社、Gilead 社、Johnson & Johnson 社、Merck & Co. 社、Novartis 社、OncoMed Pharmaceuticals 社、Pfizer 社、Regeneron 社、Roche Group 社などである[50]。

州別で医薬品サブセクターの雇用数が多く集積が進んでいるのは、雇用数が多い順に、カリフォルニア州、イリノイ州、インディアナ州、ニュージャージー州、ニューヨーク州、ノースカロライナ州、ペンシルベニア州の 7 州である。

以下の図表は、州別の医薬品サブセクターの雇用の全米合計に対する割合と雇用増減数（2012 年から 2014 年）をアルファベット順にまとめたものである[51]。黄色になっている列が、前述の医薬品サブセクターの雇用数の割合が多い 7 州であり、全米合計に対する割合が 5%を超えているのがわかる。

図表 18: 全米合計に対する州別の医薬品サブセクターの雇用の割合と 2012 年 - 2014 年の雇用増減数

（アルファベット順）

州	医薬品サブセクターの雇用の割合	医薬品サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
アラバマ州（AL）	0.9%以下	1~499 増
アラスカ州（AK）	0.9%以下	0~499 減
アリゾナ州（AZ）	0.9%以下	1~499 増
アーカンソー州（AR）	0.9%以下	1~499 増
カリフォルニア州（CA）	5%以上	500 以上増
コロラド州（CO）	1~2.9%	1~499 増
コネティカット州（CT）	1~2.9%	500 以上減
デラウェア州（DE）	0.9%以下	0~499 減
フロリダ州（FL）	1~2.9%	500 以上増
ジョージア州（GA）	1~2.9%	1~499 増
ハワイ州（HI）	0.9%以下	0~499 減
アイダホ州（ID）	0.9%以下	1~499 増
イリノイ州（IL）	5%以上	500 以上増
インディアナ州（IN）	5%以上	500 以上増
アイオワ州（IA）	1~2.9%	500 以上増
カンザス州（KS）	0.9%以下	1~499 増
ケンタッキー州（KY）	0.9%以下	1~499 増
ルイジアナ州（LA）	0.9%以下	0~499 減
メイン州（ME）	0.9%以下	1~499 増
メリーランド州（MD）	1~2.9%	0~499 減
マサチューセッツ州（MA）	0.9%以下	500 以上増
ミシガン州（MI）	0.9%以下	500 以上増
ミネソタ州（MN）	1~2.9%	0~499 減
ミシシッピ州（MS）	0.9%以下	1~499 増
ミズーリ州（MO）	1~2.9%	1~499 増
モンタナ州（MT）	0.9%以下	1~499 増

[50] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[51] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

州	医薬品サブセクターの雇用の割合	医薬品サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
ネブラスカ州（NE）	0.9%以下	0~499 減
ネバダ州（NV）	0.9%以下	1~499 増
ニューハンプシャー州（NH）	0.9%以下	1~499 増
ニュージャージー州（NJ）	5%以上	500 以上増
ニューメキシコ州（NM）	0.9%以下	0~499 減
ニューヨーク州（NY）	5%以上	0~499 減
ノースカロライナ州（NC）	5%以上	500 以上増
ノースダコタ州（ND）	0.9%以下	0~499 減
オハイオ州（OH）	1~2.9%	500 以上減
オクラホマ州（OK）	0.9%以下	1~499 増
オレゴン州（OR）	0.9%以下	0~499 減
ペンシルベニア州（PA）	5%以上	500 以上減
ロードアイランド州（RI）	0.9%以下	1~499 増
サウスカロライナ州（SC）	0.9%以下	1~499 増
サウスダコタ州（SD）	0.9%以下	1~499 増
テネシー州（TN）	0.9%以下	0~499 減
テキサス州（TX）	3~4.9%	500 以上増
ユタ州（UT）	1~2.9%	500 以上増
バーモント州（VT）	0.9%以下	1~499 増
バージニア州（VA）	0.9%以下	0~499 減
ワシントン州（WA）	0.9%以下	0~499 減
ウェストバージニア州（WV）	0.9%以下	0~499 減
ウィスコンシン州（WI）	1~2.9%	1~499 増
ワイオミング州（WY）	0.9%以下	1~499 増

出典：TEConomy/BIO[52]

2.2.1 専門職へのアンケート結果

バイオ医薬品産業の専門職種に就く 300 人へのアンケートによれば、現在から将来にわたる雇用状況については楽観的な見方が多い一方で、給与レベルについては不満もあることが分かった。

アンケート調査は、2016 年 9 月から 10 月に、バイオ医薬品の専門職 300 人を対象として実施されたもので、回答者の地域は米国（50%）、欧州（25%）、アジア（15%）などであった。雇用先はジェネリックを含む製薬会社が 55%、そのほかに委託研究・製造会社、公務員、大学関係機関、コンサルティング会社などであった。この雇用に関する調査は、医薬品関連情報メディアの BioPharm International が 2013 年から毎年実施している。

アンケートの集計結果によれば、「前年に比べて雇用が不安定になった」と感じているのは 2015 年の 33%から 25%に減少し、「前年に比べて雇用が安定した」と感じているのは同 20%から 19%に微減した。しかし、全体的には 80%が「雇用が安定しているか」という質問に、「非常にそう思う」、または「そう思う」と回答し、2015 年の同質問に対する同回答の 75%から増加した。

[52] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

給与については、「給与が上昇した」と回答した人は 59%で 2015 年の結果と同水準であったが、2014 年の 63%よりは低かった。3 分の 1 以上の回答者が「給与に変化がない」、8%が「給与が低下した」と回答した。勤務時間については、およそ 3 分の 1 が 2016 年に「2 年前に比べて長時間働いている」と回答し、前年度の 40%から減少した。半分以上の回答者が、契約上の勤務時間は 1 週間およそ 40 時間であると回答しているが、実際に労働時間が 40 時間であると回答したのは 23%のみだった。週 40 時間以上の労働時間で契約しているのは回答者の 3 分の 1 であったが、70%以上が 40 時間以上働いていると回答した。有給休暇の取得については、半分以上の回答者が利用可能な有給休暇の 75%以上を利用すると回答した[53]。

2.2.2 人材の需要と供給

人材サービス会社 Randstad 社によれば、2015 年の雇用関連データの分析から米国の労働市場は全般的に堅実な成長傾向が続いているという。バイオ製薬業の雇用については、1 万 4,000 の求人があり、1 求人当たりの平均応募者数は 14 人である。米国全体で、バイオ製薬業の求人枠が埋まるまでにかかる日数は約 54 日であり、その間の企業の損失は求人 1 人当たり平均 8,400 ドルである。3 か月以上求人が埋まらない場合の企業の損失は求人 1 人あたり 1 万 4,000 ドル以上になる。

さらに、同社による分析のうち、医薬品安全専門職と規制関連専門職、臨床プロジェクト管理者の人材について、求人の難易度を 0（非常に困難）から 100（非常に容易）までで表した「雇用指標」と、米国内の地域的な人材の需要と供給についての分析を紹介する。バイオ医薬品産業全体の雇用指標は 43 でありやや困難な状況である。

医薬品安全専門職の雇用指標は 16 であり、求人を満たすのはかなり困難である。地域的には、求人の人材は米国全体でみつかるが、ニューヨーク市、シカゴ、マイアミ／フォートローダーデールの大都市圏に人材供給が集中している。求人需要が多いのはニューヨーク市、シカゴ、ヒューストンの各大都市圏である。

規制関連専門職の雇用指標は 64 であり、求人を満たすのはやや容易である。地域的には、求人の人材は米国全体でみつかるが、ニューヨーク、ロサンゼルス、フィラデルフィアの大都市圏に人材供給が集中している。求人需要が多いのはニューヨーク、ボストン、シカゴの各大都市圏である。

臨床プロジェクト管理者の雇用指標は 40 であり、求人を満たすのはやや困難である。地域的には、求人の人材は米国全体でみつかるが、フィラデルフィア、ニューヨーク、ボストンの大都市圏に人材供給が集中している。求人需要が多いのはサウスサンフランシスコ、サンフランシスコ、ボストンである。

[53] http://www.biopharminternational.com/workers-define-2016-biopharma-employment-picture

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

2.3 医療機器

米国の医療機器サブセクターの市場は、2017 年から 5 年間に亘って年平均 2.8%拡大すると予測されているが、数年前の予測に比べて成長率が鈍化している。医療機器は利用者の拡大が見込まれているが、医療機関などからのコスト削減への圧力により価格が低迷する傾向がしばらく続くとみられる。しかし、その中でウェアラブル機器の伸びは医療機器全体に比べて 2 倍の成長を遂げている[54]。一方、厳しい市場環境の中で企業の統合や研究開発への投資が活発になると見込まれている。大手企業を中心に M&A の動きが活発であり、2015 年から 2016 年にかけて 150 あまりの大型企業統合／買収があったが、この傾向はこれからも続くとみられる。研究開発への投資は収益の 7%を占めているとみられるが、多くの企業がさらに投資率を拡大すると予測される[55]。

米国における医療機器の企業の 80%は従業員 50 名以下の小規模企業であり、バイオテクノロジーのほか、マイクロエレクトロニクスなどのハイテク企業が集中する地域にスタートアップ企業が多く存在している[56]。

医療機器サブセクターの企業は、バイオ医療関連機器をはじめ、診断、手術、患者ケア、検査室などで使用する機器を製造する。検査や患者ケアの充実のために、改良や自動化などに関連して常に最新のエレクトロニクスや IT を取り入れている。製品の例としては、生体イメージング機器、手術用機器、整形外科用機器、人工器官、ゲノム配列決定機器、自動体外式除細動器（AED）、血管ステントその他の体内埋め込み用機器、歯科及び歯科矯正用具などがある。代表的な医療機器企業は、アルファベット順に 3M Health Care 社、Baxter International 社、Becton, Dickinson and Co. 社、Boston Scientific Corp. 社、Cook Medical 社、DuPuy Synthes 社、GE Healthcare 社、Fluke Biomedical 社、Illumina 社、Medtronic 社、Philips Healthcare 社、Regenesis Biomedical 社、Siemens Medical Solutions 社、Stryker 社、Thermo Fisher Scientific 社、Zimmer 社などである。

州別で医療機器サブセクターの雇用数が多く集積が進んでいるのは、カリフォルニア州、ミネソタ州、マサチューセッツ州の 3 州である。

以下の図表は、米国州別の医療機器サブセクターの雇用の全米合計に対する割合と雇用増減数（2012-2014 年）を州名アルファベット順に並べたものである。[57]黄色になっている列が、前述の医療機器サブセクターの雇用数の割合が多い 3 州であり、全米合計に対する割合が 5%を超えているのがわかる。

[54] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[55] http://www.prnewswire.com/news-releases/research-firm-announces-top-ten-medical-device-trends-to-watch-2017-300384787.html
[56] https://www.selectusa.gov/medical-technology-industry-united-states
[57] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 19: 全米合計に対する州別の医療機器サブセクターの雇用の割合と雇用増減数（2012 年 - 2014 年）

（アルファベット順））

州	医療機器サブセクターの雇用の割合	医療機器サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
アラバマ州（AL）	0.9%以下	1~499 増
アラスカ州（AK）	0.9%以下	0~499 減
アリゾナ州（AZ）	1~2.9%	500 以上増
アーカンソー州（AR）	0.9%以下	1~499 増
カリフォルニア州（CA）	5%以上	500 以上減
コロラド州（CO）	1~2.9%	0~499 減
コネティカット州（CT）	1~2.9%	500 以上減
デラウェア州（DE）	0.9%以下	500 以上減
フロリダ州（FL）	3~4.9%	500 以上増
ジョージア州（GA）	1~2.9%	1~499 増
ハワイ州（HI）	0.9%以下	0~499 減
アイダホ州（ID）	0.9%以下	1~499 増
イリノイ州（IL）	3~4.9%	0~499 減
インディアナ州（IN）	3~4.9%	500 以上減
アイオワ州（IA）	0.9%以下	1~499 増
カンザス州（KS）	0.9%以下	0~499 減
ケンタッキー州（KY）	0.9%以下	0~499 減
ルイジアナ州（LA）	0.9%以下	1~499 増
メイン州（ME）	0.9%以下	0~499 減
メリーランド州（MD）	0.9%以下	500 以上増
マサチューセッツ州（MA）	5%以上	1~499 増
ミシガン州（MI）	3~4.9%	500 以上増
ミネソタ州（MN）	5%以上	0~499 減
ミシシッピ州（MS）	0.9%以下	1~499 増
ミズーリ州（MO）	0.9%以下	1~499 増
モンタナ州（MT）	0.9%以下	1~499 増
ネブラスカ州（NE）	1~2.9%	0~499 減
ネバダ州（NV）	0.9%以下	1~499 増
ニューハンプシャー州（NH）	0.9%以下	0~499 減
ニュージャージー州（NJ）	3~4.9%	0~499 減
ニューメキシコ州（NM）	0.9%以下	0~499 減
ニューヨーク州（NY）	3~4.9%	500 以上減
ノースカロライナ州（NC）	1~2.9%	0~499 減
ノースダコタ州（ND）	0.9%以下	1~499 増
オハイオ州（OH）	1~2.9%	0~499 減
オクラホマ州（OK）	0.9%以下	0~499 減
オレゴン州（OR）	1~2.9%	1~499 増
ペンシルベニア州（PA）	3~4.9%	0~499 減
ロードアイランド州（RI）	0.9%以下	500 以上増
サウスカロライナ州（SC）	1~2.9%	0~499 減
サウスダコタ州（SD）	0.9%以下	1~499 増
テネシー州（TN）	1~2.9%	1~499 増
テキサス州（TX）	3~4.9%	1~499 増
ユタ州（UT）	3~4.9%	500 以上増

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

州	医療機器サブセクターの雇用の割合	医療機器サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
バーモント州（VT）	0.9%以下	0~499 減
バージニア州（VA）	0.9%以下	1~499 増
ワシントン州（WA）	1~2.9%	0~499 減
ウェストバージニア州（WV）	0.9%以下	0~499 減
ウィスコンシン州（WI）	1~2.9%	500 以上減
ワイオミング州（WY）	0.9%以下	0~499 減

出典：TEConomy/BIO[58]

2.3.1 企業の求人・雇用トレンド

医療機器サブセクターの雇用は全体的に活発であり、特にベンチャー企業などが積極的に新規雇用を行っている。大手総合人材コンサルティングの Aon Hewitt の調査ユニットである Radford[59] が医療機器メーカーに対して 2016 年の求人予定をたずねたところ、上場企業の 26%が積極的、48%が例年通り、26%が限定的と回答したのに対し、非上場企業は 31%が積極的、31%が例年通り、38%が限定的と回答した。また、非上場企業の 61%が従業員を増やす予定があると回答し、医療機器の企業全般では、従業員を削減する予定はほとんどないと応えた。

離職率は、2013 年に 15.2%、2014 年に 14.5%、2015 年に 16.6%であり、景気後退後に激減したのち緩やかな増加傾向を経て 2016 年以降も、安定的に推移していくと見込まれる。この数値は、米国全体の離職率 16.6%とほぼ同じであり、ヘルスケア産業の 19%より低い[60]。上場企業と非上場企業との離職率の比較では、上場企業が 17%であるのに対し、非上場企業は 14.5%であり、非上場企業のほうが低い傾向があった。基本給と成果給を合わせた給与の平均的な昇給額については、2015 年の実績は平均 3.4%であり、2016 年の予定は平均 3.5%であった[61]。

2.4 医療研究・臨床検査

医療研究・臨床検査サブセクターは、バイオ医薬品や新薬及び薬物送達システム（Drug Delivery System：DDS）の開発、遺伝・細胞治療など高度な専門分野の研究から、医療や生命科学に関する検査サービスなどのサービス提供まで幅広い活動を含む。代表的な製品としては、委託臨床研究、幹細胞・再生研究、分子診断・検査、前臨床医薬品開発、薬物送達システム（DDS）、DNA 合成、研究及び研究室支援サービスなどがある。代表的な医療研究・臨床検査企業は、アルファベット順に Albany Molecular Research 社、Algenol 社、Charles River Laboratories 社、Genomatica 社、InCyte 社、Intrexon 社、Laboratory Corp. of America 社、NeoGenomics 社、Pacific Biomarker 社、Pathway Genomics 社、PPD (Pharmaceutical Product Development) 社、Quest Diagnostics 社、Quintiles 社、Synthetic Genomics 社などがある。

[58] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[59] https://www.radford.com/home/company/about.asp
[60] http://blog.compdatasurveys.com/turnover-trends-by-industry-2015
[61] https://www.massmedic.com/wp-content/uploads/2016/01/MassMEDIC-v62.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

州別で医療研究・臨床検査サブセクターの雇用数が多く集積が進んでいるのは、カリフォルニア州、マサチューセッツ州、ペンシルベニア州、ニュージャージー州、ニューヨーク州の 5 州である。以下の図表は、米国の州別の研究開発サブセクターの雇用の全米合計に対する割合と雇用増減（2012～2014 年）を州名アルファベット順に並べたものである[62]。黄色になっている列が、前述の医療研究・臨床検査サブセクターの雇用数の割合が多い 5 州であり、全米合計に対する割合が 5%を超えているのがわかる。

[62] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 20: 全米合計に対する州別の医療研究・臨床検査サブセクターの雇用の割合と 2012 年 - 2014 年の雇用増減数

州	医療研究・臨床検査サブセクターの雇用の割合	医療研究・臨床検査サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
アラバマ州（AL）	0.9%以下	1~499 増
アラスカ州（AK）	0.9%以下	1~499 増
アリゾナ州（AZ）	1~2.9%	1~499 増
アーカンソー州（AR）	0.9%以下	1~499 増
カリフォルニア州（CA）	5%以上	500 以上増
コロラド州（CO）	1~2.9%	500 以上増
コネティカット州（CT）	1~2.9%	500 以上増
デラウェア州（DE）	0.9%以下	1~499 増
フロリダ州（FL）	3~4.9%	500 以上増
ジョージア州（GA）	1~2.9%	500 以上増
ハワイ州（HI）	0.9%以下	0~499 減
アイダホ州（ID）	0.9%以下	0~499 減
イリノイ州（IL）	3~4.9%	1~499 増
インディアナ州（IN）	1~2.9%	1~499 増
アイオワ州（IA）	0.9%以下	0~499 減
カンザス州（KS）	1~2.9%	1~499 増
ケンタッキー州（KY）	0.9%以下	1~499 増
ルイジアナ州（LA）	0.9%以下	1~499 増
メイン州（ME）	0.9%以下	1~499 増
メリーランド州（MD）	3~4.9%	1~499 増
マサチューセッツ州（MA）	5%以上	500 以上増
ミシガン州（MI）	1~2.9%	500 以上増
ミネソタ州（MN）	1~2.9%	500 以上増
ミシシッピ州（MS）	0.9%以下	1~499 増
ミズーリ州（MO）	1~2.9%	500 以上減
モンタナ州（MT）	0.9%以下	0~499 減
ネブラスカ州（NE）	0.9%以下	0~499 減
ネバダ州（NV）	0.9%以下	0~499 減
ニューハンプシャー州（NH）	0.9%以下	1~499 増
ニュージャージー州（NJ）	5%以上	500 以上減
ニューメキシコ州（NM）	1~2.9%	0~499 減
ニューヨーク州（NY）	5%以上	0~499 減
ノースカロライナ州（NC）	3~4.9%	500 以上増
ノースダコタ州（ND）	0.9%以下	1~499 増
オハイオ州（OH）	1~2.9%	500 以上増
オクラホマ州（OK）	0.9%以下	0~499 減
オレゴン州（OR）	0.9%以下	1~499 増
ペンシルベニア州（PA）	5%以上	1~499 増
ロードアイランド州（RI）	0.9%以下	0~499 減
サウスカロライナ州（SC）	0.9%以下	1~499 増
サウスダコタ州（SD）	0.9%以下	1~499 増
テネシー州（TN）	1~2.9%	1~499 増
テキサス州（TX）	3~4.9%	1~499 増
ユタ州（UT）	1~2.9%	1~499 増
バーモント州（VT）	0.9%以下	1~499 増

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

州	医療研究・臨床検査サブセクターの雇用の割合	医療研究・臨床検査サブセクターの雇用増減数（2012 年 - 2014 年）
バージニア州（VA）	1~2.9%	0~499 減
ワシントン州（WA）	1~2.9%	0~499 減
ウェストバージニア州（WV）	0.9%以下	1~499 増
ウィスコンシン州（WI）	1~2.9%	500 以上増
ワイオミング州（WY）	0.9%以下	0~499 減

出典：TEConomy/BIO[63]

全米雇用関連データによると、医療研究・臨床検査サブセクターにおけるバイオ医療技術者の雇用者数は、2014 年に 2 万 2,100 人となっている。2014 年から 10 年間で雇用者数は増加率 23%となり、5,100 人増加すると予測される。尚、2015 年の平均年間給与は 8 万 6,220 ドル、平均時給は 41 ドル 45 セントである。就業に必要な資格としてはバイオ医療またはバイオ工学の公認プログラムの学士号などが一般的である[64]。

2.5　州別のバイオテクノロジー産業の動向

多くの州や地域においてバイオテクノロジー産業のサブセクター雇用統計が集計されている。バイオテクノロジー産業のサブセクターのうち、13 州とプエルトリコで医薬品サブセクター、14 州とプエルトリコで医療機器サブセクター、10 州とプエルトリコで医療研究・臨床検査サブセクターについて雇用統計が集計されている。2012 年から 2014 年にかけて、全米 50 州のうち 35 州においてバイオテクノロジー産業の雇用が増加した。また、2001 年から 2014 年の長期で見た場合にも 35 州においてバイオテクノロジー産業の雇用が成長しており、全米で 9.7%の雇用増加がみられた[65]。

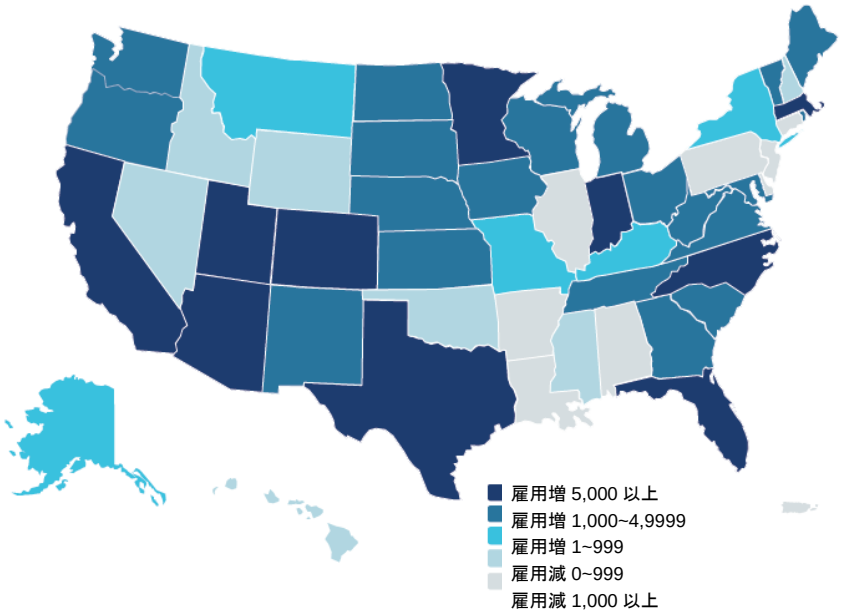
以下の図表は、バイオテクノロジー産業の州別雇用増減を地図で表したものである。

[63] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[64] https://www.bls.gov/ooh/architecture-and-engineering/biomedical-engineers.htm
[65] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

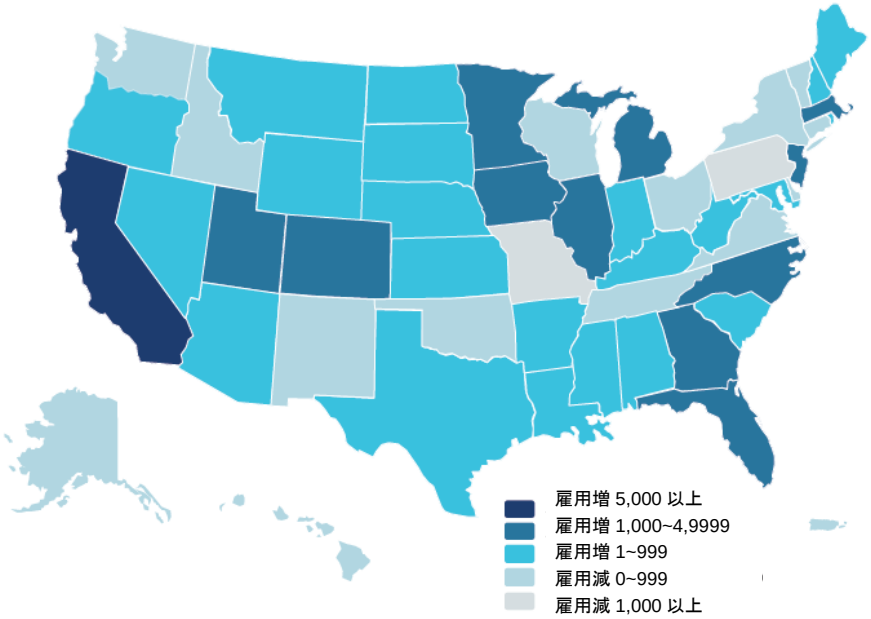
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 21: 州別バイオテクノロジー産業雇用増減(2001 年 - 2014 年)(2012 年 - 2014 年)

2001 年 - 2014 年



2012 年 - 2014 年



出典:TEConomy/BIO[66]

[66] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 22: 州別、バイオテクノロジー産業各セクターの
雇用統計の有無（2014 年）と雇用増（2012 年 - 2014 年）

（州名アルファベット順）

州	製薬		医療機器		医療研究・臨床検査	
	雇用統計有	雇用増	雇用統計有	雇用増	雇用統計有	雇用増
アラバマ州（AL）		○		○		○
アラスカ州（AK）						
アリゾナ州（AZ）		○		○		○
アーカンソー州（AR）		○		○		○
カリフォルニア州（CA）	○	○	○		○	○
コロラド州（CO）		○				○
コネティカット州（CT）	○					○
デラウェア州（DE）					○	○
ワシントン D.C（DC）						○
フロリダ州（FL）		○		○		○
ジョージア州（GA）		○		○		○
ハワイ州（HI）						
アイダホ州（ID）		○		○	○	
イリノイ州（IL）	○	○				○
インディアナ州（IN）	○	○	○			○
アイオワ州（IA）		○		○		
カンザス州（KS）		○				○
ケンタッキー州（KY）		○				○
ルイジアナ州（LA）				○		○
メイン州（ME）	○	○				○
メリーランド州（MD）	○			○	○	○
マサチューセッツ州（MA）	○	○	○	○	○	○
ミシガン州（MI）		○		○		○
ミネソタ州（MN）			○			○
ミシシッピ州（MS）		○		○		○
ミズーリ州（MO）		○		○		
モンタナ州（MT）		○		○		
ネブラスカ州（NE）			○			
ネバダ州（NV）		○		○		
ニューハンプシャー州（NH）		○	○			○
ニュージャージー州（NJ）	○	○	○		○	
ニューメキシコ州（NM）					○	
ニューヨーク州（NY）						
ノースカロライナ州（NC）	○	○			○	○
ノースダコタ州（ND）						○
オハイオ州（OH）						○
オクラホマ州（OK）		○				
オレゴン州（OR）						○
ペンシルベニア州（PA）	○				○	○
プエルトリコ（PR）	○		○	○	○	○
ロードアイランド州（RI）	○	○	○	○		○
サウスカロライナ州（SC）		○				
サウスダコタ州（SD）		○		○		○

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

州	製薬		医療機器		医療研究・臨床検査	
テネシー州（TN）				○		○
テキサス州（TX）		○		○		○
ユタ州（UT）	○	○	○	○	○	○
バーモント州（VT）		○				○
バージニア州（VA）						
ワシントン州（WA）						
ウェストバージニア州（WV）	○					○
ウィスコンシン州（WI）		○	○			○
ワイオミング州（WY）		○				

出典：TEConomy/BIO[67]

[67] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

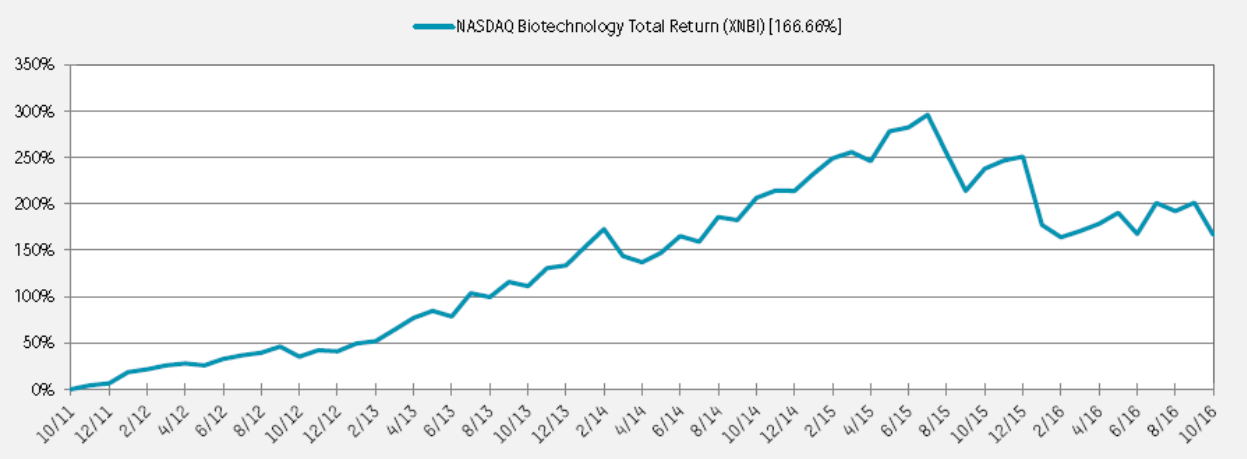
3　資金調達の状況

本章では、IPO と株式公開企業による追加公募、ベンチャーキャピタルの投資動向についての近年の情報から、バイオテクノロジー企業の資金調達の環境について概観する。

3.1　株価の動向

バイオテクノロジー産業全体として、2015 年はピークを迎えた年とされているが、新規株式公開（Initial Public Offering: IPO）市場では成長の鈍化が指摘されており、M&A とライセンス供与が急増している。一方で、ベンチャーキャピタル投資（Venture Capital: VC）の勢いは加速している[68]。主要バイオテクノロジー企業の株価指数を示す NASDAQ バイオインデックス[69]は 2015 年 7 月 20 日に 400.79 ドルの最高値[70]を記録したものの、その後下落し、2016 年以降はほぼ横ばいの状態が続いた。以下の図表で過去 5 年間の Nasdaq Biotechnology Index（以下、NASDAQ バイオインデックス）の変遷を示す。アナリストの間には、近年のバイオテク企業の株式の好況は、世界中の中央銀行が景気緩和策を講じたものの行き場を失った投資資金が引きおこしたバブルであった恐れがあるとして、ドットコムバブルやサブプライムローンバブルと比較する声もある[71]。

図表 23: NASDAQ バイオインデックスの変遷（2011 年 - 2016 年）



出典：NASDAQ Biotechnology Index Fact Sheet[72]

[68] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
[69] 162 社からなる。（2017 年 2 月 23 日現在）：https://indexes.nasdaqomx.com/Index/Overview/NBI
[70] http://www.nasdaq.com/symbol/ibb/historical
[71] http://www.forbes.com/sites/jessecolombo/2016/01/31/tracking-the-biotech-bubbles-bust/#103c74896efa
[72] https://indexes.nasdaqomx.com/docs/NBI_FS.pdf

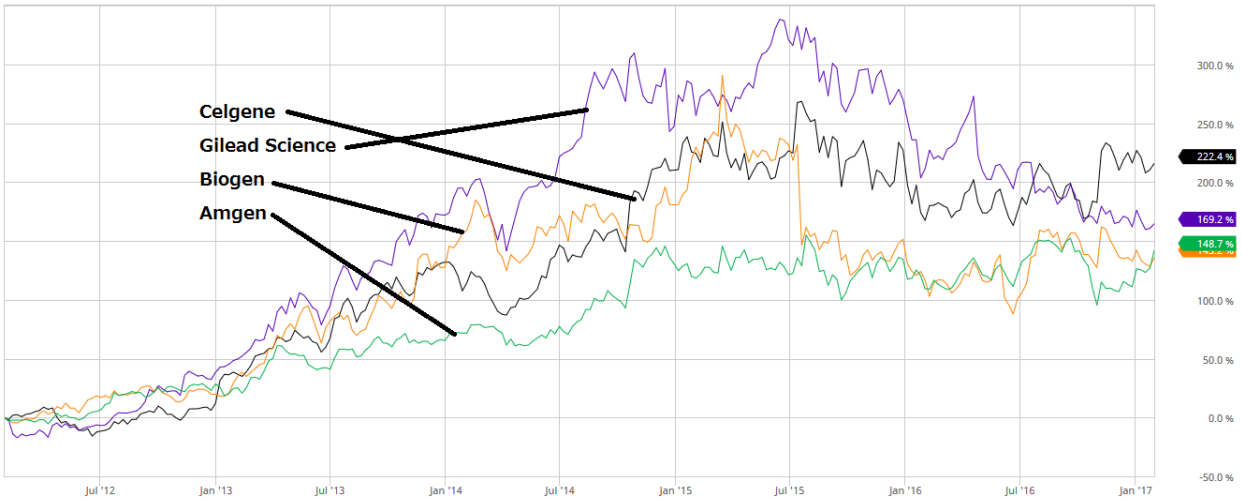
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

こうしたバイオテク企業の株価高騰を駆り立てる背景には、大手医薬品企業が、いずれも製薬パイプラインの枯渇という問題を抱えており、新薬候補を抱えるバイオテク企業への投資に積極的になっていることが挙げられる。その結果、有望なバイオテク企業が現れると投資が集中し、バイオテク市場は加熱しやすくなっている。Gilead 社の時価総額が GlaxoSmithKline 社、Sanofi 社、Bristol-Myers Squibb 社を超え、Biogen 社 の時価総額が AstraZeneca 社や Eli Lilly 社を超えるという事態も起きている。バイオテク市場は何度もバブルを経験してきたにもかかわらず、今回もまた投資過熱後の停滞を招いているのには、投資競争から降りるわけにはいかないという製薬業界の事情が背後にあるともみられている[73]。

NASDAQ バイオインデックスの時価総額上位 4 社について、以下の図表で 2012 年から 2017 年の株価の変動を示す。2015 年 9 月までの 5 年間に NASDAQ バイオインデックスは 285%上昇している。この間に Gilead Science 社の株価は 500%以上、Biogen 社と Celgene 社は 300%以上上昇したが、Amgen 社の株価上昇は 160%程度であった[74]。この 4 社は NASDAQ バイオインデックスの時価総額のおよそ 3 割を占めており、この 4 社の株価動向がインデックスの上昇を大きく主導している。

図表 24: Celgene、Gilead Science、Biogen、Amgen 各社の株価の変動推移（2012 年 - 2017 年）

（縦軸%）



出典：Barchart[75]

[73] https://www.ft.com/content/fd99c020-e1b5-11e4-bb7f-00144feab7de
[74] http://etfdailynews.com/2015/09/24/a-quality-biotech-stock-is-available-on-the-cheap/
[75] https://www.barchart.com/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

3.2 IPO の状況

3.2.1 最近の主要バイオテクノロジー企業 IPO

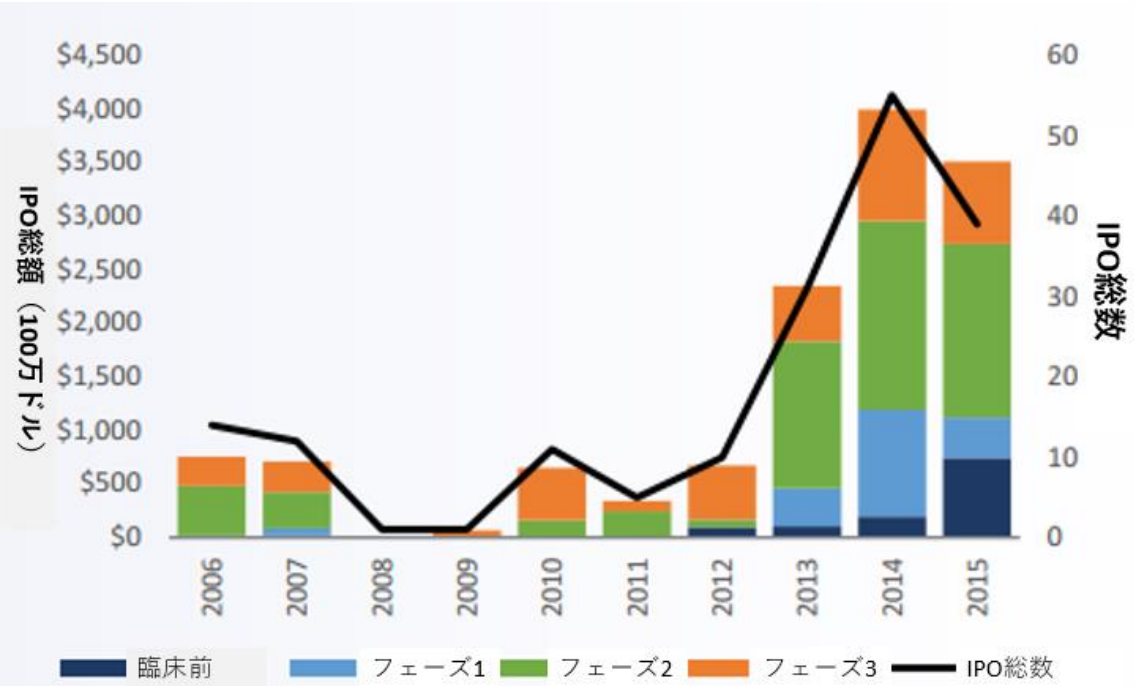
2014 年と 2015 年の市場の活況で市場は新しい局面に入ったとする楽観的な見方もあったが、2016 年の市場の低迷により、こうした見方は打ち消された。2016 年には市場環境の厳しさから、IPO を断念あるいは延期する企業が相次いぎ、2008 年から 2009 年の金融危機以降、IPO 件数は最低になった。[76]。2016 年度第 4 四半期（10～12 月）の製薬・バイオ関連株式公開（IPO）は、7 社であり、市場からの資金調達は 4 億 4,410 万ドルにとどまり、過去 4 年間の 4 半期で最も少なかった。2014 年度には史上最高の 85 社、2015 年度には 68 社の製薬・バイオ関連企業が IPO をおこなったが、2016 年度は 36 社にとどまった。2017 年になり、米国の新政権が減税・ヘルスケアシステムの見直しを打ち出す中で、先行きの不透明感が広がり、投資家も静観を余儀なくされている。先行きの不透明感は漂うものの、トランプ政権の法人税引き下げが M&A などの活性化につながることを期待する声もある。製薬大手企業は、法人税改革の行く末を注視しており、海外での収益を米国内に還元するタイミングを探っているものとみられている[77]。

以下図表は米国の異なる研究開発の段階（フェーズ）ごとの、バイテク企業の IPO 件数・額の推移を示している。バイオテクノロジー産業全体と同様、2014 年の勢いは 2015 年に失速していることがわかる。2012 年からの急増は、2012 年 4 月に成立した JOBS 法（Jumpstart Our Business Startups Act）により、投資家と企業管理者のコミュニケーションの円滑化が促進され、IPO 前の投資家に対する情報提供などの企業負担が軽減したことによる。また、2015 年は件数・IPO 総額ともに勢いが失速しているものの、臨床前段階企業の IPO が急増していることがわかる。フェーズ 1[78]と合わせると 12 社が株式公開企業となった[79]。

[76] http://www.fiercebiotech.com/biotech/biotech-ipo-market-slowdown-will-it-continue-into-2017
[77] https://www.bloomberg.com/news/articles/2017-01-09/biotech-ipos-are-nowhere-to-be-found-as-investors-wait-on-trump
[78] それぞれのフェーズに関しては、4 章参照。
[79] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 25: 研究開発フェーズ別 IPO 件数と総額の推移(2006 年 - 2015 年)



	IPO時の開発ステージ	2006	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015
件数	臨床前～フェーズ3	14	12	1	1	11	5	10	31	55	39
	市販段階	4	3	0	2	1	3	1	1	5	0
	合計	18	15	1	3	12	8	11	32	60	39
総額($M)	臨床前～フェーズ3	$756	$711	$5	$68	$650	$343	$672	$2,350	$3,993	$3,508
	市販段階	$170	$159	$0	$1,035	$56	$197	$55	$37	$1,161	$0
	合計	$926	$870	$5	$1,103	$706	$541	$727	$2,387	$5,154	$3,508

出典:BIO[80]

バイオテクノロジー分野では、まだ製品が市場に出ていない段階のベンチャー企業が IPO を通して資金調達を行っている。以下の図表では、2006 年から 2015 年までの米国の研究開発段階にあるバイオテクノロジー企業の IPO 動向を、疾患分野別に示している。疾患分野別に IPO 件数や金額には大きな差があることが分かる[81]。IPO の疾患分野別では、癌などのオンコロジー(腫瘍学)分野が過去 10 年間の IPO 総額の約 4 分の 1 を占めている(2006 年以降の総額 159 億ドルの内、36 億ドル)。オンコロジー分野の IPO 資金調達は、2011 年から 2014 年の間も他の分野から突出していた。しかし、2015 年になると、アルツハイマー病などの神経学分野が急増し、オンコロジー分野の IPO 総額 8 億 9,700 万ドルを上回る 10 億 5,000 万ドルの資金を調達した。これには、3 億 1,500 万ドルで IPO した神経系異常治療薬で有名な Axovant Sciences 社が大きく寄与している。

[80] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf
[81] "Emerging Therapeutic Company Investment and Deal Trends", David Thomas, June 2016, pp.19, https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 26: 疾患分野別の研究開発段階バイオテクノロジー関連企業 IPO 件数と総額(2006 年 - 2015 年)

件数(上、単位:件)と調達総額(下、単位:100 万ドル)

疾患分野	2006	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015
神経学	5	2	0	1	2	2	1	0	8	11
	$214	$152	$0	$68	$106	$82	$55	$0	$467	$1,058
腫瘍学	3	1	0	0	1	3	3	14	10	9
	$104	$50	$0	$0	$81	$248	$236	$958	$1,033	$897
循環器系	0	0	1	0	2	0	0	2	3	3
	$0	$0	$5	$0	$90	$0	$0	$134	$161	$253
代謝系	0	2	0	0	0	0	1	3	2	3
	$0	$172	$0	$0	$0	$0	$50	$301	$176	$155
感染症	4	4	0	0	3	0	2	4	8	2
	$202	$172	$0	$0	$123	$0	$140	$315	$420	$211
内分泌系	0	2	0	0	0	0	0	0	8	2
	$0	$155	$0	$0	$0	$0	$0	$0	$612	$152
精神病	1	0	0	0	0	0	0	0	1	2
	$60	$0	$0	$0	$0	$0	$0	$0	$33	$98
血液学	1	1	0	1	0	0	0	3	3	2
	$106	$15	$0	$950	$0	$0	$0	$205	$309	$192
眼科	0	0	0	0	1	0	0	2	4	2
	$0	$0	$0	$0	$72	$0	$0	$234	$267	$201
その他	1	0	0	1	1	1	1	0	6	2
	$37	$0	$0	$85	$30	$106	$81	$0	$1,212	$215
呼吸器疾患	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1
	$0	$69	$0	$0	$0	$0	$0	$72	$0	$77
免疫系	1	0	0	0	1	1	2	1	4	0
	$60	$0	$0	$0	$17	$50	$120	$73	$302	$0
消化器系	2	2	0	0	1	1	0	1	1	0
	$144	$86	$0	$0	$188	$55	$0	$25	$60	$0
基盤技術	0	0	0	0	0	0	1	1	2	0
	$0	$0	$0	$0	$0	$0	$45	$70	$102	$0
合計	18	15	1	3	12	8	11	32	60	39
	$926	$870	$5	$1,103	$706	$541	$727	$2,387	$5,154	$3,508

出典:BIO[82]

2016 年のバイオテクノロジー分野において、ゲノム編集技術である CRISPR-Cas9 技術の 3 社の IPO が注目された。マサチューセッツ州の Editas Medecine 社は 2016 年 2 月に 9,440 万ドル、マサチューセッツ州の Intellia Therapeutics 社は 2016 年 5 月に 1 億ドル、スイスとマサチューセッツ州に拠点を構える CRISPR Therapeutics 社は 2016 年 10 月に 560 万ドルで、それぞれ IPO をおこなった。

CRISPR-Cas9 の基本特許を巡っては、一度はブロード研究所のフェン・チャン(Feng Zhang)博士に対して認められたものの、研究成果を 2012 年 6 月に Science に発表しているカリフォルニア大学バークレイ校ジェニファー・ダウドナ(Jennifer Anne Doudna)博士とスウェーデンのウメオ大学(当時)のエマニュエル・シャルパンティエ(Emmanuelle Marie Charpentier)博士らの共同研究チームによる特許再審査申請が受理され、再審査が進められており、特許権の帰趨は定まっていない[83]。Editas Medecine はフェン・チャン博士、Intellia Therapeutics はジェニファー・ダウドナ博士、CRISPR Therapeutics 社はエマニュエル・シャルパンティエ博士が設立に関わった会社である。なお、Editas Medecine の設立当初には、ジェニファー・ダウドナ博士も参加していたが、特許権を巡る係争が生じたため、袂を分かっている。今後の特許権の行方が、3 社に及ぼす影響が注目される。

[82] "Emerging Therapeutic Company Investment and Deal Trends", David Thomas, June 2016, pp.19, https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf
[83] http://www.nature.com/news/crispr-heavyweights-battle-in-us-patent-court-1.21101

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

また、CRISPR 技術自体が科学的にもまだ初期的な段階にあるため、技術的にも先を見通せないという指摘がある。しかし、技術自体のインパクトは見過ごすことができないものであり、既に Bayer、Celgene、Glaxo といった大手企業もベンチャーキャピタル部門を通じて CRISPR Therapeutics 社との協業を進めている[84]。

2016 年度に 1 億ドル以上の IPO を実現したバイオ医薬品企業としては、分子標的・癌免疫薬の BeiGene 社（中国・北京、米国オフィス・マサチューセッツ州）[85]、癌免疫薬を開発している Hutchison China Meditech 社（香港の国際企業 CK Hutchison Holdings Limited 社の傘下企業。米国では AstraZeneca 社と最終段階の臨床試験を共同でおこなっている。）[86][87][88]、Axovant 社の創業者 Vivek Ramaswamy 氏が 8 億 7,800 万ドルで株式公開した女性用妊娠促進薬などを開発中の Myovant Sciences 社（カリフォルニア州）[89][90]、遺伝子治療の AveXis 社（イリノイ州）[91]といった企業がある。

3.2.2 2015 年主要バイオテクノロジー企業 IPO

以下の図表は、2015 年の IPO による資金調達額上位 10 社を示している。このうち、上位 5 社についてそれぞれ解説する。

図表 27: バイオテクノロジー企業 IPO 総額上位 10 社（2015 年）

企業	調達額（$M）	公開価格（$）	制限範囲	プレミアム	上場証券所	公開後変動幅（2015年）	上場月
Axovant	315	15	$13-$18	-3%	NYSE	20%	6月
NantKwest	208	25	$20-$23	16%	Nasdaq	-31%	7月
Adaptimmune	191	17	$15-$17	6%	Nasdaq	-29%	4月
Spark Therapeutics	161	23	$19-$21	10%	Nasdaq	97%	1月
Aimmune Therapeutics	160	16	$14-$16	7%	Nasdaq	15%	8月
Blueprint Medicines	147	18	$17-$19	0%	Nasdaq	46%	4月
REGENXBIO	139	22	$14-$16	47%	Nasdaq	-25%	9月
ProNAi Therapeutics	138	17	$15-17	6%	Nasdaq	-12%	7月
Seres Therapeutics	134	18	$16-18	6%	Nasdaq	95%	6月
Global Blood Therapeutics	120	20	$14-16	33%	Nasdaq	62%	8月
10社平均	*171*	*#*	*#*	*13%*	*#*	*24%*	*#*

出典：Evaluate 社"Pharma & Biotech 2015 in Review"[92]

[84] http://www.fiercebiotech.com/biotech/crispr-therapeutics-raises-a-56m-ipo-but-patent-battles-potential-stock-drops-loom
[85] http://www.beigene.com/
[86] http://www.chi-med.com/
[87] https://www.ft.com/content/d238dbd8-ee38-11e5-aff5-19b4e253664a
[88] http://ir.nasdaq.com/releasedetail.cfm?releaseid=961223
[89] http://myovant.com/
[90] http://www.forbes.com/sites/nathanvardi/2016/10/27/biggest-biotech-ipo-of-2016-is-launched-by-31-year-old/#1817d92928db
[91] https://avexis.com/
[92] http://info.evaluategroup.com/rs/607-YGS-364/images/epv-pbr15.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

A. Axovant 社[93]

Axovant 社は、英 GlaxoSmithKlein（GSK）社のアルツハイマー病治療薬候補開発プロジェクト RVT-101 がスピンオフした企業である。通常、バイオテクスタートアップの上場市場は NASDAQ だが、Axovant 社は 2015 年 6 月にニューヨーク証券取引所に上場し、バイオテクノロジー企業 IPO 史上最高額となる 3 億 6,000 万ドルを調達した。Axovant の本社は英領バミューダ諸島であり、スイスのバーゼル市と米国ニューヨークにオフィスを構えている。創業者 CEO の Vivek Ramaswamy 氏は 1985 年生まれのバイオテクノロジー起業家であり、Axovant 社は Roivant Sciences 社に続き彼が創業した 2 番目の会社である。RVT-101 は、現在フェーズ 3 の治験段階にある。なお、この RVT-101 については、GlaxoSmithKlein 社が手放した候補薬として、その価値をめぐる議論もある[94][95]。

B. NantKwest 社[96]

NantKwest 社（カリフォルニア州）は、NK 細胞（natural killer cell）による自然免疫系を用いて、癌や感染症、炎症疾患に対する免疫療法を開発している[97]。NantKwest 社は、2015 年 7 月の NASDAQ への上場により、2 億 700 万ドルの資金を調達した。IPO とは別に、Celgene 社から 1,700 万ドルの出資を得ている。創業者の Patrick Soon-Shiong は、2015 年に 1 億 5,000 万ドルの報酬を得た CEO である[98]。

C. Adaptimmune Therapeutics, Plc 社[99]

バイオテクベンチャーAdaptimmune Therapeutics, Plc 社（英国・オックスフォード、米国オフィス・フィラデルフィア）は、T 細胞受容体による自然免疫系を利用した独自の癌治療法を開発している。同社は 2015 年 6 月 5 日に NASDAQ に上場し、1 億 9,100 万ドルを調達した。GlaxoSmithKline 社とパートナーシップを結び、新薬 NY-ESO TCR に関するいくつかの臨床試験を進めている[100][101]。

D. Spark Therapeutics 社[102]

2015 年 1 月 30 日、遺伝子治療スタートアップ Spark Therapeutics 社（ペンシルベニア州）は NASDAQ に上場し、資金調達額は 1 億 6,100 万ドルに上った。市場の遺伝子治療薬に対する期待から、公募価格 23 ドルを大幅に上回る 45.10 ドルの初値をつけた。 Spark Therapeutics 社の最も治験段階の進んだ候補薬 SPK-RPE65 は、アデノ随伴ウイルス（Adeno-associated virus、AAV）による遺伝子導入を利用し眼科疾患の難病治療を行うもので、現在の治験はフェーズ 3 である[103][104]。

---

93 http://axovant.com/
94 http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2015/09/09/is-axovants-alzheimers-drug-the-real-deal-or-a-phantasm/#4a6898c61d02
95 http://www.cnbc.com/2015/06/11/axovant-biggest-biotech-ipo-is-biotech-in-a-bubble.html
96 http://nantkwest.com/
97 https://www.bloomberg.com/news/articles/2015-07-28/soon-shiong-s-nantkwest-climbs-after-raising-207-million-in-ipo
98 http://www.fiercebiotech.com/biotech/patrick-soon-shiong-met-donald-trump-for-nih-chief-job
99 http://www.adaptimmune.com/
100 http://www.usnews.com/news/business/articles/2015/05/06/drug-developer-adaptimmune-wavers-after-ipo-raises-191m
101 http://www.fiercebiotech.com/biotech/adaptimmune-hauls-191m-an-upsized-immuno-oncology-ipo
102 www.sparktx.com
103 http://www.reuters.com/article/spark-ipo-idUSL4N0V97Q920150130

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

E. Aimmune Therapeutics 社[105]

2015 年 8 月 6 日に NASDAQ 上場を果たした Aimmune Therapeutics 社（カリフォルニア州）は、フェーズ 3 臨床段階のバイオ製薬スタートアップであり、ピーナツ等の食品アレルギー減感作治療薬[106]AR101 などを開発している。IPO では、1 億 6,800 万ドルの資金を調達した。IPO 直前の 2015 年 6 月には、米国食品医薬品局（FDA）から AR101 について" Breakthrough Therapy Designation（画期的な治療薬）"[107]として認められている。以前の社名は Allergen Research Corporation 社（2011 年設立）であり、2015 年 5 月に改称した[108][109]。

2015 年には、この他にも、キナーゼ阻害剤の Blueprint Medicines 社（マサチューセッツ州）[110]、アデノ随伴ウィルス（AAV）による遺伝子治療の REGENXBIO 社（メリーランド州）[111]、癌治療のための DNA 損傷応答治療の Sierra Oncology 社（上場時の名称 ProNAi Therapeutics から改称、本社カナダ・バンクーバー）[112]、マイクロバイオーム製薬の Seres Therapeutics 社（マサチューセッツ州）[113]、血液系難病に取り組む Global Blood Therapeutics 社（カリフォルニア州）[114]などといった企業が 1 億ドル以上の IPO を米国で実現した。

3.3 追加公募の状況

バイオテクノロジー産業において、追加公募（Follow-On Public Offerings：FOPOs）は重要な資金調達方法と見られている。IPO よりも盛んで、主に、既に上場した新興企業が新たな投資資金を調達したり、上場企業の内部関係者が現金化したりする目的で行われている。その多くは過去 2～3 年間に株式公開された新興企業が中心となり、更なる力強い成長が期待されている。

2015 年第1四半期、バイオテクノロジー産業関連企業は、合計 187 億ドルの資金調達を実施した。この資金調達額は、前年同期の 3 倍にあたり、過去 10 年間の四半期実績の中で最大であった。2015 年に注目された大型の追加公募案件は、Actavis 社が Allergan 社を買収した際に実施された 42 億ドルの調達や、Intercept 社が 2 度に亘る追加公募を実施し、5 億 7,000 万ドルを調達したことである[115]。

---

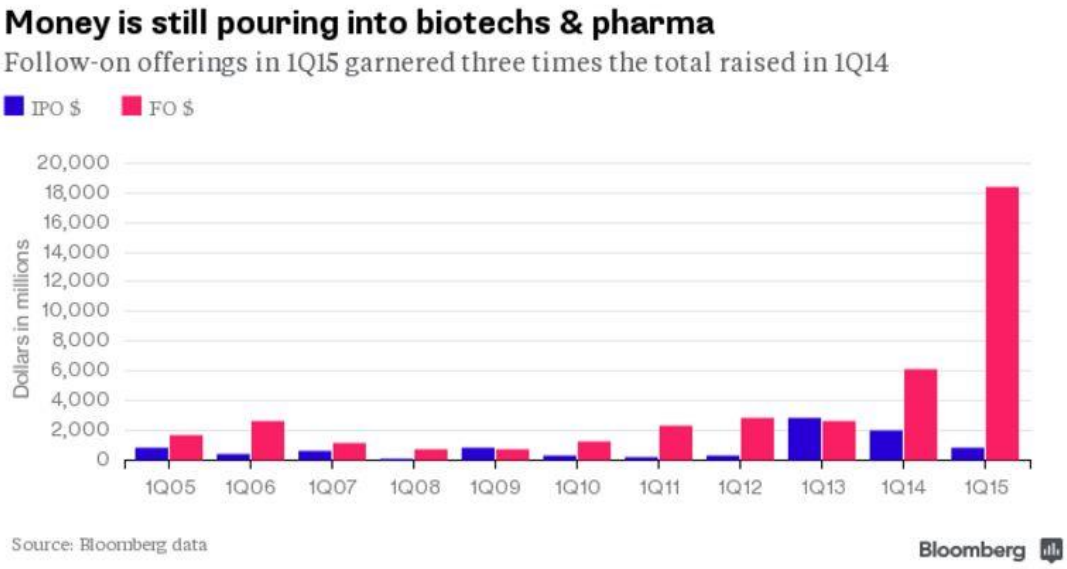
[104] http://www.fiercebiotech.com/r-d/spark-nails-a-161m-ipo-to-fund-its-breakthrough-gene-therapy
[105] www.aimmune.com
[106] アレルギー反応が起こりにくいように、体質そのものを改善すること。
[107] 既存薬からの実質的な改善が期待される開発薬に対して指定され、迅速な開発と承認審査の対象となる。
[108] http://www.nasdaq.com/article/go-nuts-aimmune-therapeutics-prices-upsized-ipo-at-16-the-high-end-of-the-range-cm505658
[109] http://ir.aimmune.com/phoenix.zhtml?c=254097&p=irol-newsArticle&ID=2083744
[110] http://www.blueprintmedicines.com/
[111] http://www.regenxbio.com
[112] https://www.sierraoncology.com/
[113] http://www.serestherapeutics.com/
[114] http://www.globalbloodtx.com/
[115] https://www.bloomberg.com/news/articles/2015-04-30/biotech-investors-flock-to-follow-on-offerings-as-ipos-dwindle

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

以下の図表は、バイオテクノロジー産業関連企業の IPO および追加公募の推移を表している。

図表 28: バイオテクノロジー産業関連企業の IPO および追加公募の推移

（2005 年第 1 四半期から 2015 年第 1 四半期）（単位：100 万ドル）



注：青の棒グラフが IPO、赤の棒グラフが追加公募

出典：Bloomberg[116]

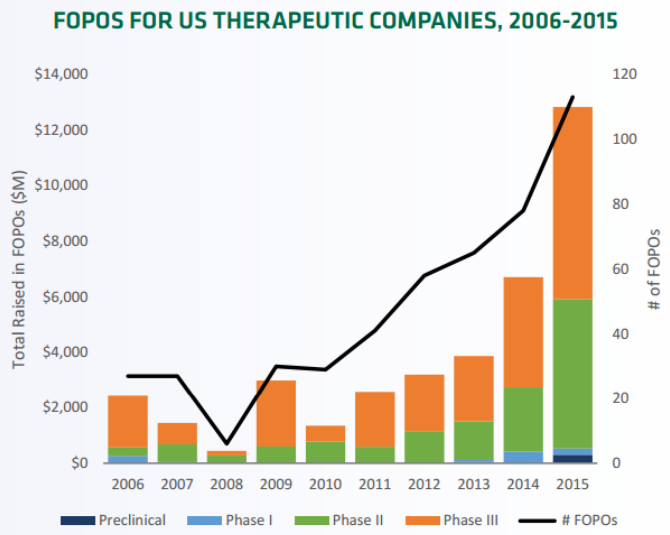
2015 年、年間の医薬品関連スタートアップ企業の追加公募は計 132 件で、総額 161 億ドルと、前年の 89 億ドルから大幅に増えた。この 132 件の追加公募のうち、58 件が 1 億ドル以上、25 件が 2 億ドル以上の資金調達を行った。この要因には、市販前の開発に取り組んでいる企業が、進行中の臨床試験に必要な資金調達を行ったことが挙げられる。以下の図表が示す通り、前臨床～フェーズ 3 までの追加公募額が 2014 年の 67 億ドルから、2015 年には 128 億ドルと倍増している。2006 年から 2015 年までの 10 年間に亘って、資金調達額および件数ともに増加傾向にあり、フェーズ 3 の企業が追加公募のほぼ半分を占めている[117]。

[116] 同上

[117] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 29: 研究段階別、医薬品企業の追加公募の件数と金額(2006 年 - 2015 年)



Stage at FOPO	2006	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015
Preclinical - Ph III #, (>$10M)	27	27	6	30	29	41	58	65	78	113
Marketed #, ($>10M)	9	7	5	12	16	10	18	24	21	19
Total # (>$10M)	36	34	11	42	45	51	76	89	99	132
Preclinical - Ph III ($M)	$2,431	$1,453	$443	$2,996	$1,352	$2,583	$3,202	$3,876	$6,710	$12,831
Marketed ($M)	$1,242	$608	$580	$1,692	$1,281	$812	$1,647	$2,403	$2,147	$3,282
Total ($M)	$3,673	$2,060	$1,023	$4,688	$2,633	$3,395	$4,850	$6,279	$8,857	$16,113

Chart 9. Top: FOPOs for US R&D-stage emerging therapeutic companies, 2006-2015. Bottom: The number of FOPOs (with values above $10M) and total FOPO dollars raised per year for R&D-stage and market-stage companies, 2006-2015.

出典:Biotechnology Innovation Organization[118]

追加公募は主に遺伝子や細胞療法などの最先端治療の分野において、立ち上げ間もない野心的な企業によって行われており、投資家の注目を集めている。年別にみると、バイオテクノロジー産業の IPO、追加公募による資金調達額は歴史的なレベルを記録しているが、四半期ごとに見ると変動が激しい。例えば、2015 年第 3 四半期は 48 案件により計 44 億ドルが計上されたが、同年第 4 四半期は 27 案件で計 12 億ドルであった。2015 年全体で見ると、少なくとも 66 のバイオテクノロジー企業(米国と欧州)が 1 億ドル以上を調達し、なかには 2 億ドル以上の企業も 26 あった[119]。BioMarin Pharmaceuticals 社は 2015 年 1 月に約 9 億ドルを集め、過去 9 年間で最大のバイオテクノロジー企業による追加公募であった[120]。

[118] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf
[119] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/ey-beyond-borders-2016-biotech-financing/$FILE/ey-beyond-borders-2016-biotech-financing.pdf
[120] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/ey-beyond-borders-2016-biotech-financing/$FILE/ey-beyond-borders-2016-biotech-financing.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

3.4 ベンチャーキャピタル投資の状況

ベンチャーキャピタルは、新薬および改善薬への投資に大きく貢献している。以下の図表は、2006 年から 2015 年における米国製薬会社へのベンチャーキャピタルの投資額推移を表している。新薬開発（novel drug）とは、現在、治療法のない疾患に対して、革新的で独自性の高い予防維持薬の可能性に関する研究開発で、改善薬の開発（drug improvement）とは、新しい薬物送達法や製剤、または承認薬に新たな治療効果を追加することを指す。

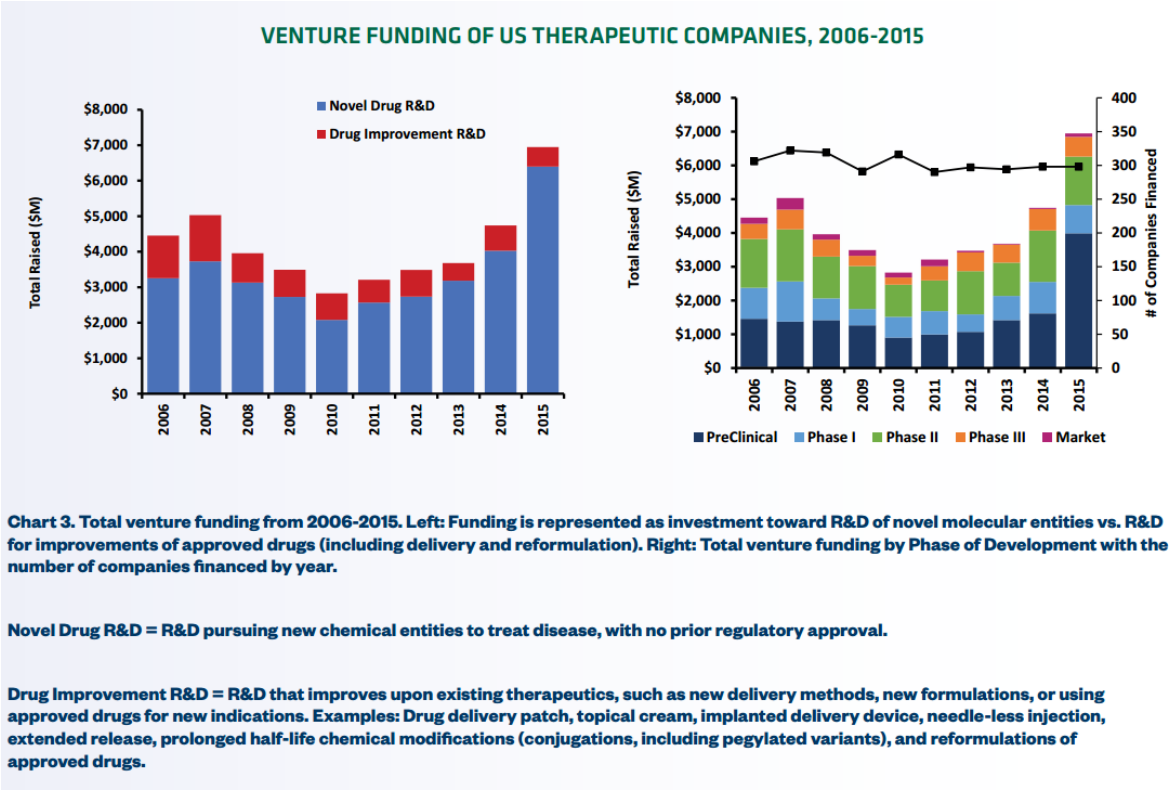
医薬品開発企業へのベンチャーキャピタル投資は、2015 年に過去最高水準に達しており、総額 68 億ドルの資金調達を実現している。前年の 2014 年も、47 億ドルと、当時の過去最高水準であった 2007 年の 50 億ドルに匹敵する投資額であったが、2015 年はそれを 20 億ドル近く上回った。このような水準に至った背景には、1 億ドル以上の大型投資を受けた企業が 7 社あり、この 7 社の投資総額が 13 億ドルを超えたことにある。2015 年の大型案件の 1 つに、単体ではバイオテクノロジー産業で過去最高の、Moderna Therapeutics 社への 4 億 4,600 万ドルの投資があった。ベンチャーキャピタル投資の約 70%は、主要製品が臨床前（preclinical）およびフェーズ 1 のアーリーステージ（early stage）[121]の企業に投じられた。これは、1 社あたり 5,000 万ドル以上の投資を受けた企業が 22 社あり、アーリーステージ企業への投資額の半分近くを占めていたことが大きい[122]。

[121] 起業直後 2, 3 年の段階の企業を指す。
[122] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 30: 米国製薬会社へのベンチャーキャピタルの投資推移(2006 年 - 2015 年)

左:新薬開発と改善薬への投資、右:開発フェーズ別の投資



出典:Biotechnology Innovation Organization[123]

以下の図表は、2015 年の疾病別に見た米国の医薬品企業に対するベンチャーキャピタル投資を表しており、腫瘍学関係(Oncology)が特出して多いことがわかる。2015 年までの過去 10 年間、米国ベンチャーキャピタルのバイオテクノロジー産業向け投資額の約 30%は腫瘍の研究開発企業に投資された。そのうち 89%は新薬の研究開発に投じられ、2015 年も、その傾向は続き、投資額としては 20 億ドルを超え、過去最高水準であった。これは、2014 年の 12 億ドルから 66%増であったが、80 社ある腫瘍の研究開発企業のうち 1 億ドル以上の投資を受けたのは 2 社のみで、一部の企業による大型案件で投資額が膨らんだのではない。

2010 年から 5 年連続で、神経分野(Neurology)の企業へのベンチャーキャピタル投資が増加している。2015 年には総額 9 億 6,000 万ドルで、2014 年の 4 億 5,600 万ドルから倍増している。この分野の企業の約 40%は、アルツハイマー症やパーキンソン病の医薬品開発に取り組んでいる。

2015 年に代謝疾患分野(Metabolic)の研究開発に対するベンチャーキャピタル投資は、前年 2014 年と比較して約 300%増加した。また、16 件の投資案件のうち 11 案件が希少遺伝性疾患で、投資総額 4 億

[123] 同上

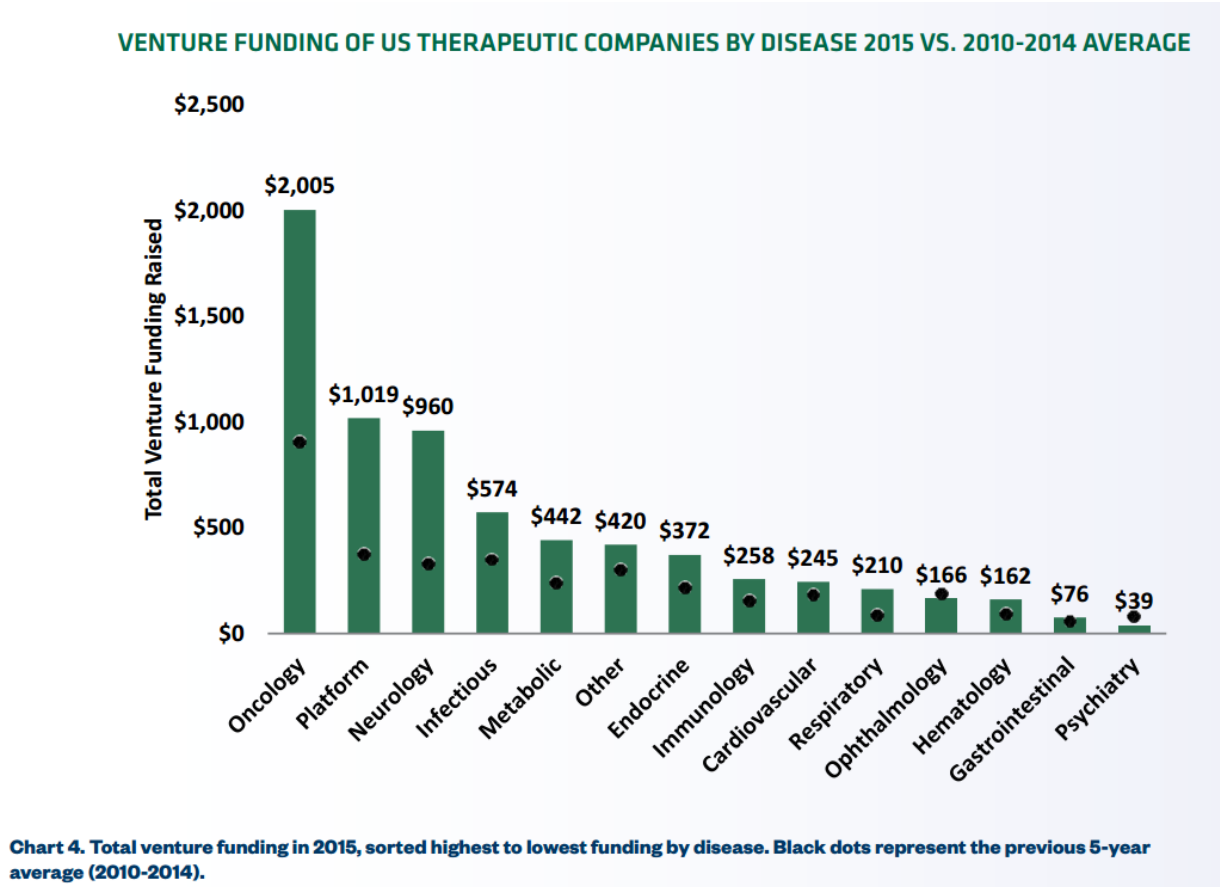
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

4,200 万ドルのうち 3 億 3,900 万ドルであった。精神疾患（Psychiatry）や胃腸疾患（Gastrointestinal）の分野は、ベンチャーキャピタル投資対象としては 2015 年の最小額で、それぞれ 3,900 万ドルと 7,600 万ドルにとどまった[124]。

図表 31：疾病分野別　米国の医薬品企業に対するベンチャーキャピタル投資の動向（2015 年）

（単位：100 万ドル）

（棒グラフ：2015 年実績、黒点：2010 年 - 2014 年の平均値）



出典：Biotechnology Innovation Organization[125]

また、疾患分野別に見るとベンチャーキャピタル投資の推移から、投資家の嗜好が変化してきている点が読み取れる。以下の図表では、2006 年から 2010 年と、2011 年から 2015 年のそれぞれの 5 年間を比較し、新薬研究開発に対するベンチャーキャピタル投資の変遷を表している。増加率で見ると、単一疾患に限らず幅広い疾患に応用が効くプラットフォーム技術（Platform）[126]の増加幅が 130%と、他分野と比較して顕著である。そのため、その 2 期間を比べた際に投資家の注目がプラットフォーム技術へ大きく移ったこと

[124] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf
[125] 同上
[126] 本稿でいう「プラットフォーム技術」とは、特定の疾患・治療法に限定せず様々な疾患への医薬品の発見、製造、伝達などに応用が効く技術のこと。また、そういった技術を中心としたビジネスモデルのこと。例として、CRISPR 技術などがある。

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

がわかる。投資額で見るとプラットフォーム技術は 14 億ドル増加し、腫瘍分野の 17 億ドルに続いて第 2 位であった。代謝分野（Metabolic）と神経分野（Neurology）では、増加率の半分以上が 2015 年の特出した伸びが原因であり、、この 2 分野を合わせて 5 億ドル以上の投資額となった。胃腸疾患（Gastrointestinal）、呼吸器疾患（Respiratory）、内分泌系疾患（Endocrine）、感染症（Infectious Disease）といった有病率の高い 4 疾病は、2006 年から 2010 年と、2011 年から 2015 年のそれぞれの期間で、投資額は減少傾向にあった[127]。

図表 32: 疾病分野別 ベンチャーキャピタル投資の増減割合

（2006 年-2010 年と 2011 年-2015 年の比較）

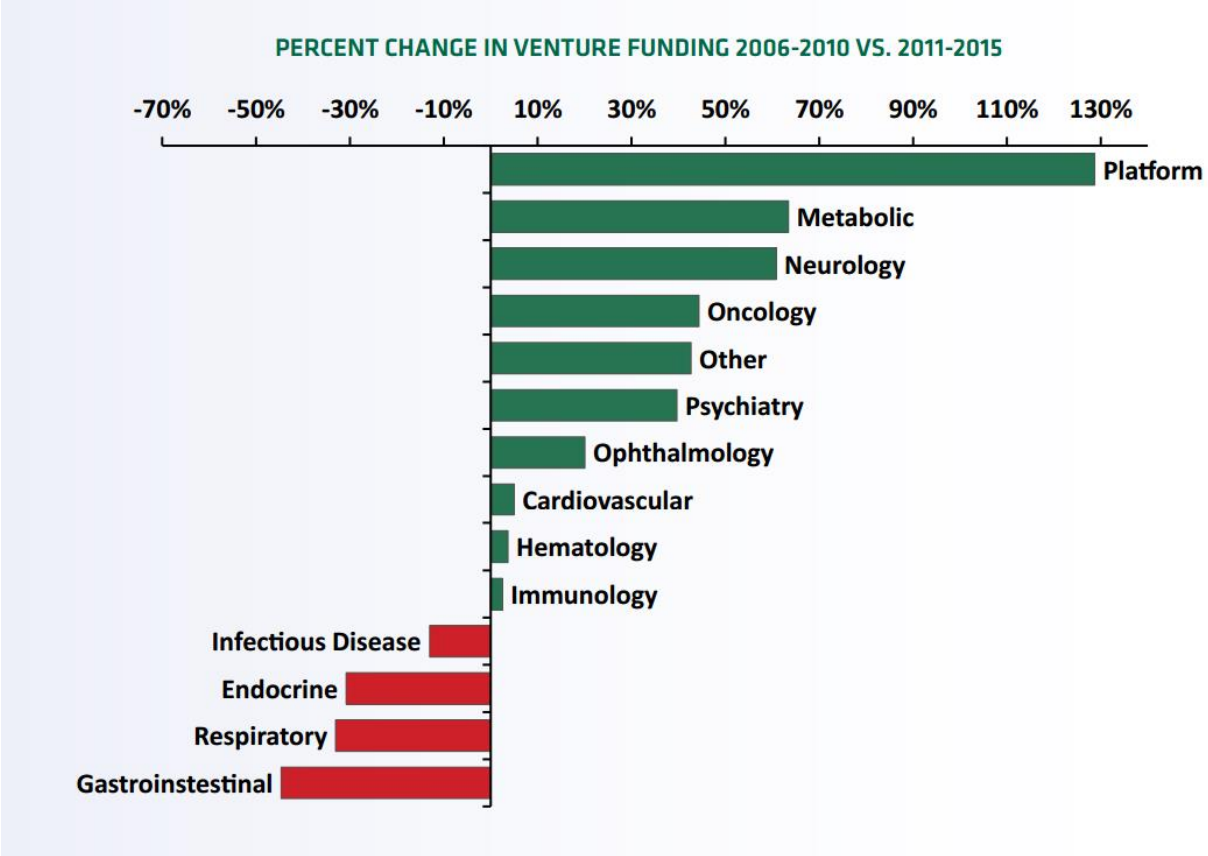


Chart 5. The percent change in novel venture capital investment by disease between the past two-five year periods (2006-2010 vs. 2011-2015)

出典：Biotechnology Innovation Organization[128]

[127] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf
[128] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO_Emerging_Therapeutic_Company_Report_2006_2015_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

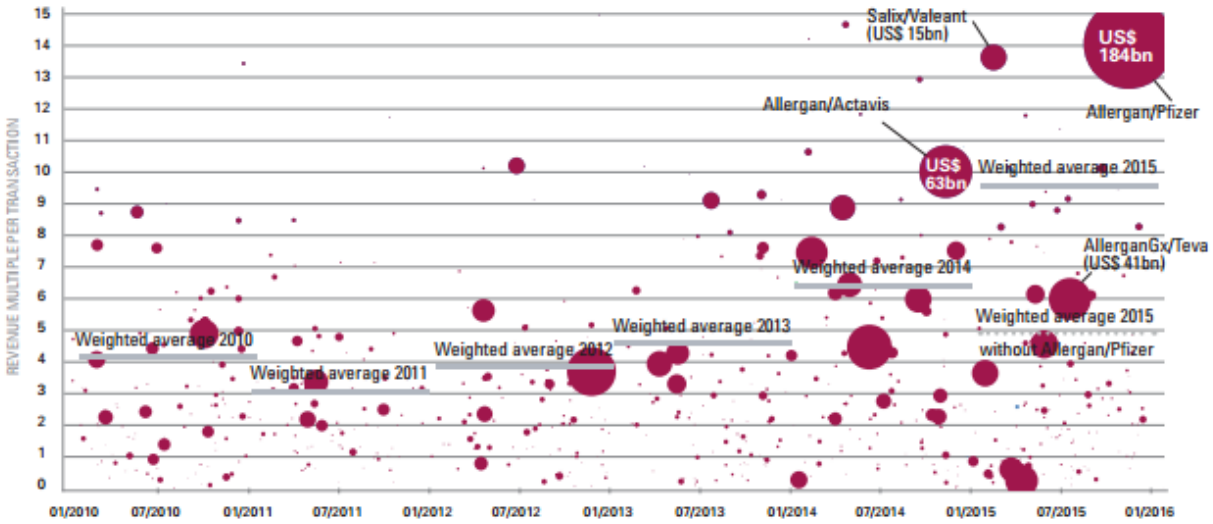
3.5 M&A 概況

米国バイオテクノロジー産業における 2015 年の M&A トレンドを見ると、2015 年の米国拠点企業をターゲットにした M&A 件数は 64 件、M&A 額は合計 900 億ドルと、2014 年（M&A 件数 50 件、M&A 額 403 億ドル）を上回り、過去最高となった。2006 年以降のトレンドを見ると、総じて製薬企業・バイオテクノロジー企業間の M&A が活発だったが、2015 年の M&A 拡大にはバイオテクノロジー企業同士の取引が大きく寄与している。特に、バイオテクノロジー企業同士の大型 M&A（50 億ドル超）の合計は 273 億ドルに上っている[129]。

近年の傾向を引き継ぎ、2015 年は米国だけでなく世界的にバイオ製薬企業の M&A が活発化した年であった。以下の図表は、全世界におけるバイオ製薬企業の M&A を表しており、2010 年以降の M&A の傾向を見ると、①件数（バブルの数）、②額（バブルの大きさ）、③売上高倍率[130]の平均（バブルの位置）という全ての指標において成長が持続している[131]。

図表 33: 全世界におけるバイオ製薬企業 M&A の推移（2010 年 - 2015 年）

縦軸：売上高倍率、バブルの大きさ：M&A 額。



Note: Pharma deals with reported revenue multiples <20x and deal size >US$ 10m: n=607; bubble sizes represent deal size.
Source: IMAP analysis based on data from MergerMarket.

注：2015 年に発表された Pfizer 社による 1,600 億ドルでの Allergan 社との合併は、2016 年に断念されたが（後述）、上図表には含まれている。

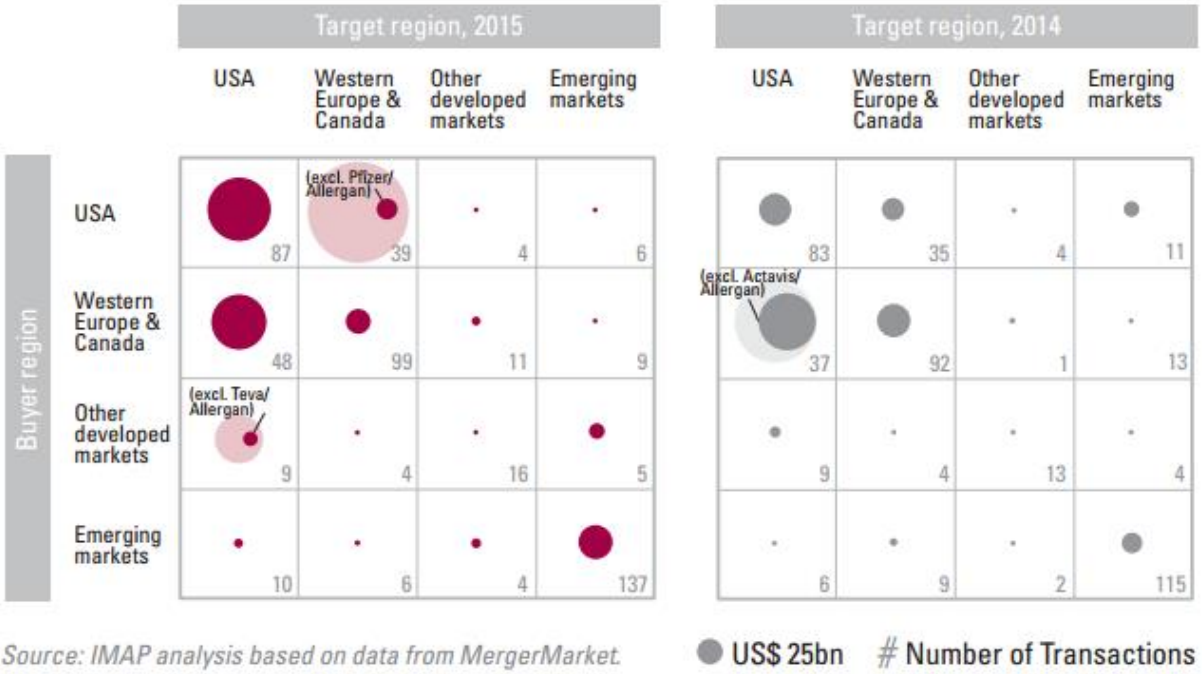
出典：IMAP[132]

[129] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
[130] M&A 取引額を年間売上高で割ったもの。
[131] http://www.imap.com/Reports/Global%20Pharma%20Biotech%20MA%20Report%202016.pdf
[132] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

以下の図表は、M&A 元企業（Buyer region）と M&A 先企業（Target region）の地域別の関係性をマトリクスにして表している。2015 年（左）と 2014 年（右）を比較した際に、米国企業同士の M&A の額と件数が増加している。また、米国企業と西欧・カナダの企業間の M&A 取引が件数と額ともに増加しているのが見て取れる。

図表 34: M&A 元企業と M&A 先企業の地域別の関係（2014 年と 2015 年の比較）



注 1：縦欄は M&A 元企業の、横欄は M&A 先企業の国・地域。バブルの大きさは額、数字は M&A 件数を示している。
注 2：2016 年に断念された Pfizer 社による Allergan 社との合併（ピンク）も含む。

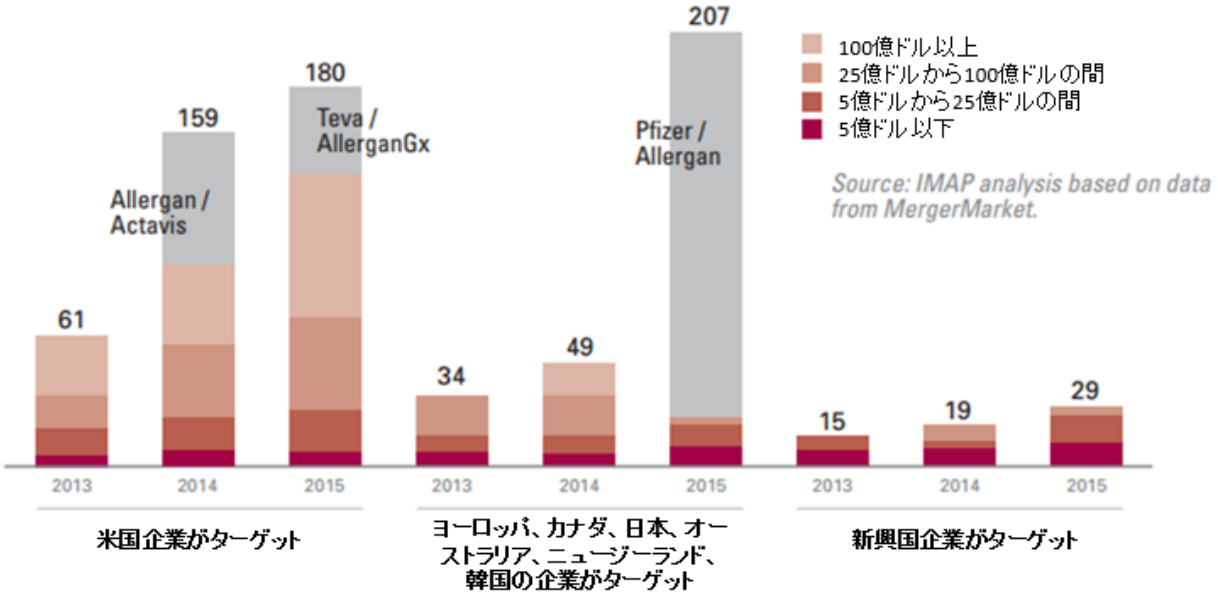
出典：IMAP[133]

またバイオ医薬品産業においても、2013 年から 2014 年にかけて、米国を拠点としていた企業が税率の低い米国外の企業を買収合併することにより税負担を減らす、いわゆる「課税逆転」を目的とした M&A が盛んに行われており、2015 年には、税率の低い欧州に本社を移した元米国企業が他の米国企業を買収・合併するという現象が見られている。以下図表は、M&A 先国別買収総額を表しており、2015 年に欧州に所在する企業の M&A 額が突出しているが、その大半は課税逆転を目的とした Pfizer 社による Allergan 社との巨額合併計画（後に断念）によるものであり、同 M&A 額を無視すると、M&A の多くが米国企業を対象としていることがわかる[134]

[133] http://www.imap.com/Reports/Global%20Pharma%20Biotech%20MA%20Report%202016.pdf
[134] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 35: 世界地域別 M&A 先総額の推移(2013 年 - 2015 年)



出典: IMAP[135]

2015 年における M&A を個別に見ると、Abbott 社からスピンオフしたバイオ製薬企業 AbbVie 社[136]による 210 億ドルの Pharmacyclics 社買収が最高額の取引となっている。この買収により AbbVie 社は、Pharmacyclics 社による血液悪性腫瘍治療薬である Imbruvica の所有権を一部とはいえ取得することになったが、この技術を巡っては、AbbVie 社だけでなく、Johnson & Johnson 社、そして非公開でもう 1 社が獲得に乗り出した結果、買収額が 200 億ドルを上回ることになった。この買収額は M&A を巡る競争の激しさを物語っている[137]。AbbVie 社による M&A に続き、カナダ企業である Valeant Pharmaceuticals 社による米国企業 Salix Pharmaceuticals 社の買収額が 100 億ドルを超えている。また、アイルランドに本社を置く Shire 社による Dyax 社及び NPS Pharmaceuticals 社の 2 企業の買収額の合計も 100 億ドルを上回った(下図表参照)[138]。

図表 36: 米国バイオテクノロジー企業が関与した主要な M&A(2015 年)

M&A 元企業	M&A 先企業	額(単位:ドル)
AbbVie(米)	Pharmacyclics(米)	210 億
Valeant Pharmaceuticals(カナダ)	Salix Pharmaceuticals(米)	109 億 6,000 万
Alexion Pharmaceuticals(米)	Synageva BioPharma(米)	84 億
Celgene(米)	Receptos(米)	72 億

135 http://www.imap.com/Reports/Global%20Pharma%20Biotech%20MA%20Report%202016.pdf
136 https://dealbook.nytimes.com/2011/10/19/abbott-to-split-into-two/?_r=1
https://www.abbvie.com/
137 http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
138 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

M&A 元企業	M&A 先企業	額(単位:ドル)
Shire(アイルランド)	Dyax(米)	65 億 4,600 万
Shire(アイルランド)	NPS Pharmaceuticals(米)	52 億
Otsuka Pharmaceutical(日)	Avanir Pharmaceuticals(米)	35 億 6,000 万
Teva Pharmaceutical(イスラエル)	Auspex Pharmaceuticals(米)	35 億
AstraZeneca(英)	ZS Pharma(米)	27 億
Mallinckrodt(英)	Ikaria(米)	23 億
Allergan(アイルランド、米)	Kythera Biopharmaceuticals(米)	21 億
Bristol-Myers Squibb(米)	Cardioxyl Pharmaceuticals(米)	20 億 7,500 万
Amgen(米)	Dezima Pharma(オランダ)	15 億 5,000 万

注:2016 年に断念された Pfizer 社による Allergan 社との合併は含まれていない。

出典: EY[139]

2017 年におけるバイオ・製薬産業の M&A 活動について、同年の M&A 総額は 2,000 億ドルを超えると予測されている。ビジネスの推進に力を入れるトランプ政権による法人税削減や規制緩和が実現すれば、米国外の資金が米国に還流することが想定される。例えば、税負担の軽減が実現すれば、これまで米国外に本拠地を移していた元米国企業が、今度は米国の税制を活用するべく、米国企業と取引するようになることが考えられる。また、糖尿病や自己免疫疾患、癌などの分野における持続的な成長がますます困難となり、競合が激しくなること、保険会社による医薬品価格抑制の圧力が続くことも、M&A 活動を後押しするとしている[140]。

3.6 今後の展望

トランプ大統領は当選直後の 2017 年 1 月、製薬・バイオテクノロジー産業に対し、政府の購買に際して入札を導入する考えを明らかにし、製薬業界によるロビー活動を批判する発言を記者会見で行った。この発言後、NASDAQ バイオインデックスは 3%、S&P 500 Pharmaceuticals, Biotechnology & Life Sciences Index は 1.7%下落した[141]。トランプ大統領の政策は製薬・バイオテクノロジー産業にとって有利なものとなると見られていただけに、民主党の政策にも通じるこの発言には衝撃が走った。実際、大統領選挙期間中には、エイズ・癌治療薬 Daraprim の価格を買収後 50 倍以上に引き上げた Turing Pharmaceutical 社に対する批判をヒラリー・クリントン候補がツイッターに投稿し、FDA に調査を求めるという出来事もあった[142]。米国では、他の諸外国と異なり、薬価の直接的な規制が行われていない。しかし、政府は、メディケア等を通じて、最大の医薬品購入者であり、その影響力は大きい。トランプ大統領もこれまでも選挙期間中から製薬業界について、ロビー活動が盛んで薬価が余りに高すぎるとして批判を行ってきた。

[139] http://www.ey.com/Publication/vwLUAssets/EY-beyond-borders-2016/%24FILE/EY-beyond-borders-2016.pdf
[140] http://www.genengnews.com/gen-news-highlights/ey-biopharma-ma-will-soar-in-2017/81253668
[141] https://www.bloomberg.com/news/articles/2017-01-11/drug-stocks-plunge-as-trump-threatens-to-force-price-bidding
[142] http://money.cnn.com/2015/10/20/news/companies/hillary-clinton-drug-prices-daraprim/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

こうした背景の下、2017 年 1 月 31 日、トランプ大統領は製薬業界リーダー7 名[143]をホワイトハウスに迎え、製薬業界の米国での製造、FDA の規制、税金、薬価について議論した[144][145]。会談の議題は、製造、R&D と規制、薬価、貿易、税制といった点に及んだ。各社が薬の製造を米国内にシフトする方針を打ち出す一方で、トランプ大統領は FDA の規制が製薬研究開発の費用増加をもたらしているとして、規制緩和と FDA の整理再編を打ち出した。そのなかで、コンパッションユース（人道的な未承認薬の使用）についても言及した。また、他国の薬価制度により米国民は高額な薬価を負担することになっているとし、不均衡の解消を目指すべきだという意見を主張した。

従来の主張と比べ会談のメッセージは、矛先を製薬業界から FDA と国際貿易に向けるものとなった。現状でも、未承認薬については FDA の「拡大アクセス（expanded access）」プログラムがあるが、米国腫瘍学会（American Cancer Society）は、物流面での入手困難を指摘している。いずれにしても、トランプ大統領は、医薬品の市場化までの長い時間を劇的に短縮する考えを持っているようだ[146]。医薬品の承認に関して規制緩和が実現すると、バイオテクノロジー産業関連企業にとって、研究開発コストが削減でき、企業の経営面および資金調達面でも有利な環境となることが想定される。

[143] Celgene Corporation 社 CEO Mark J. Alles 氏、Eli Lilly 社 CEO David A. Ricks 氏、Merck 社 CEO Ken Frazier 氏、Novartis 社 CEO Joseph Jimenez 氏、Amgen 社 CEO Robert Bradway 氏、Johnson & Johnson 社の医薬品部門である米 Janssen Pharmaceuticals 社ワールドワイド・チェアマンの Joaquin Duato 氏（米国研究製薬工業協会 PhRMA の会長に 2017 年 1 月 9 日に選任）、米国研究製薬工業協会（PhRMA の Stephen Ubl）
[144] http://medcitynews.com/2017/01/trump-softens-tone-meeting-biopharma-execs/
[145] http://www.forbes.com/sites/kenkam/2016/11/29/donald-trumps-presidency-triggers-big-gains-for-biotech-stocks/#3d03849d6c9c
[146] http://medcitynews.com/2017/01/trump-softens-tone-meeting-biopharma-execs/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

4　FDA が承認したバイオ医薬品

本章では、米国の新薬を承認する連邦政府機関である、米国食品・医療品局（Food and Drug Administration: FDA）が近年承認したバイオ医薬品を中心に解説する。

4.1　FDA の承認について

FDA の承認は、米国市場で医薬品を販売しようとする製造者全てが受けなくてはならず、安全性、有効性、副作用などが段階的に時間をかけて審査される。以下で、承認体制、承認申請の種類、承認プロセスについて詳しく説明する。

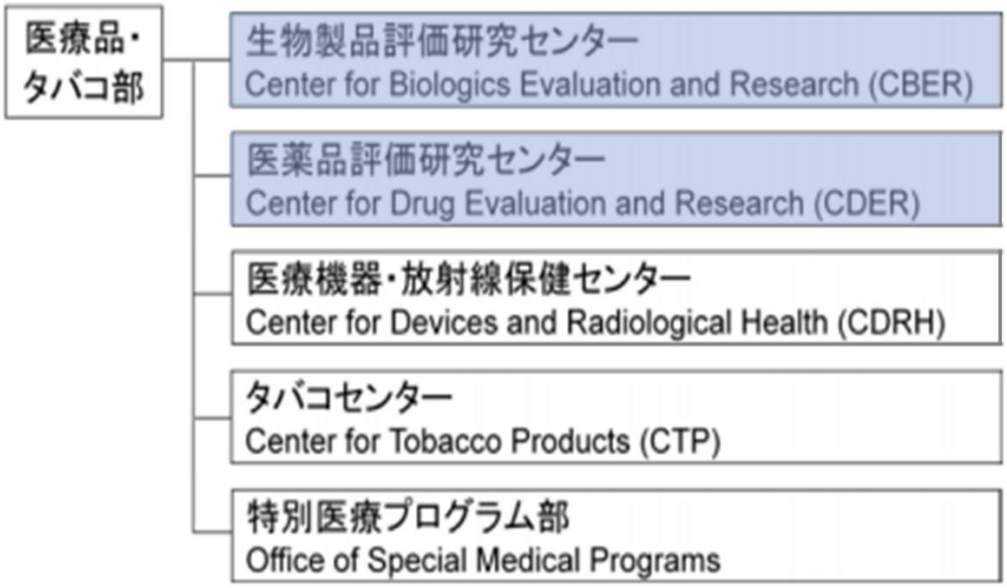
4.1.1　FDA の承認体制

FDA は、医薬品製造者から申請される新薬（一般医薬品・バイオ医薬品を含む全ての医薬品）と医療機器の承認を担当している。FDA における新薬は、医薬品・タバコ部（Office of Medical Products and Tobacco）内の医薬品評価研究センター（Center of Drug Evaluation and Research: CDER）と生物製品評価研究センター（Center for Biologics Evaluation and Research: CBER）の 2 機関が評価・承認・規制を担当している[147]。2 つの機関の承認基準の違いは、一般的に CDER は全ての医師の処方箋なしで買える一般薬品（Over-The-Counter： OTC）、処方箋医薬品、ジェネリック（後発）医薬品または一部の生物製剤を対象とし[148]、CBER は血液製剤やワクチンなどを始めとしたバイオ医薬品全体を対象としている[149]。

[147] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/default.htm
[148] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CDER/default.htm
[149] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 37: FDA、医薬品・タバコ部の組織構成



出典:医薬品医療機器総合機構[150]

A. 医薬品評価研究センター(CDER)の評価・規制対象の概要

前述のように CDER は全ての OTC 一般薬品、処方箋医薬品、ジェネリック医薬品、または一部の生物製剤の安全性や効果を評価・承認・規制の対象としているが、他にも一般的には薬とは認識されていない、フッ化物歯磨き粉、発汗抑制剤、ふけ用シャンプー、日焼け止めなども対象としている[151]。また、CDER は、市場に出回った後の新薬のモニタリング(MedWatch System)も実施している。このシステムは、新薬が上市後、医療従事者や消費者に正しい情報が伝達されているか、医薬品が正しく安全で効果的に作用しているか、医薬品の質は維持されているか、想定外のリスクが生じていないか等のモニタリングを常時行い、もし予期せぬ新しいリスクが確認された場合は、一般への情報伝達、ラベルの変更、市場販売の中止などの行動に乗り出す[152]。CDER にて評価・承認される一部のバイオ療法製品は、生体内用モノクローナル抗体[153]、CBER 指定以外の植物・動物・微生物・遺伝子組換え由来のタンパク質、免疫調整剤、生体内の造血細胞を集結・刺激・減少または変化させる成長因子(増殖因子)、サイトカインなどがある[154]。

B. 生物製品評価研究センター (CBER)の評価・規制対象の詳細

CBER は前述の CDER と異なり、バイオ医薬品とその関連製品のみを専門に扱う機関である。CBER は、バイオ製品を「化学的に合成された医薬品と対照的に、人間、動物、微生物由来の製品」と定義し、規

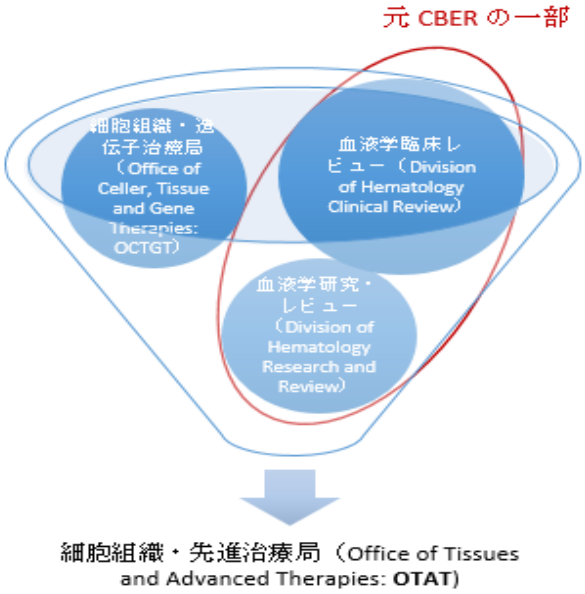
[150] http://www.pmda.go.jp/files/000157750.pdf
[151] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CDER/FAQsaboutCDER/default.htm#2
[152] http://www.fda.gov/Drugs/ResourcesForYou/Consumers/ucm143462.htm
[153] 単一の抗体産生細胞に由来するクローンから得られた抗体(免疫グロブリン)分子
[154] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CBER/ucm133463.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

制の対象としている具体的なバイオ製品は、ワクチン、アレルゲンエキス、抗毒素・アンチベニンおよび毒液、血液、血液製剤、細胞・遺伝子治療、免疫治療、生体組織・細胞、異種移植関連製品、血液等への微生物等 汚染を防御する目的で使用される医療機器等である[155]。新薬の評価や既に承認された製品の規制は、製造者から提出された科学的・臨床的なデータを基に、CBER の承認基準と照らし合せて行われる。CBER の承認プロセスは特に安全性を重視し、バイオ製品を使用する患者の有効性の最大化、リスクの最小化を目的に行われている[156]。

昨今、CBER は、規制ミッションを更に効率的に遂行するために、同施設内の評価機能と組織構成の見直しを実施している。その結果、CBER は 2016 年 10 月 16 日付で、同センターの細胞組織遺伝子治療局（Office of Cellular, Tissue and Gene Therapies：OCTGT）の代わりに細胞組織・先進治療局「Office of Tissues and Advanced Therapies（OTAT）」を新しく設置した。OTAT は、従来、OCTGT が管轄していた部署（Division）を引き継ぐほか、OBRR（Office of Blood Research and Review）が担当していた2つの部署（Division of Hematology Clinical Review および Division of Hematology Research and Review）を OTAT に統合し再編成する。結果として、CBER は、OBRR、OVRR（Office of Vaccines Research and Review）、OTAT の 3 部署による編成される。今後、OTAT は、血液向けの治療用タンパク質の精製版および遺伝子組換え版のすべての規制を管轄することになる（抗毒素も含む）[157]。

図表 38：CBER の組織改正イメージ（改正後：2016 年）



出典：FDA を基にワシントンコア作成[158]

[155] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CBER/ucm133463.htm
[156] 同上
[157] http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CBER/ucm525907.htm
[158] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

4.1.2 承認申請の種類[159]

FDA の新薬承認申請は大きく分けて以下の 5 つに分類される。

A. 臨床試験実施申請資料（Investigational New Drug ：IND）

現在、米国連邦法では、ある化合物を医薬品として臨床試験を行う前に IND と呼ばれる臨床試験の為の「情報パッケージ」を FDA に提出して承認を得ることが義務付けられている。これは、製薬会社はもちろん大学や病院などの学術研究を含む全てが対象であり、州間の移動を伴う場合にも必要である。この臨床試験を行うための許可証が IND である[160]。

B. 新薬承認申請書（New Drug Application：NDA)

スポンサー（製薬会社や大学などの研究機関）が新薬の安全性や効果のテストを行い、FDA の基準を満たしたと判断した場合に FDA に提出される公式な承認申請書が NDA である。1938 年以降、全ての新薬は米国市場へ出回る前に、この NDA 承認を受けなくてはならない。申請書には、IND 時の動物と人間両方を用いて臨床試験された、化学的、薬理学的、医学的、 および統計的見地からの具体的なデータが含まれていなくてはならない。この NDA の申請が承認されて初めて米国一般市場への販売が許可される。

C. 簡略承認申請書（Abbreviated New Drug Application：ANDA)

ANDA は主にジェネリック医薬品の最終的な審査の申請書である。ANDA が簡略（”Abbreviated”）である理由は、一般的にジェネリック医薬品には動物を用いた前臨床試験や人体を用いた臨床試験が義務付けられていないからである。しかし、ジェネリック医薬品申請はその製品がもとの製品と生物学的に同等の機能があることを証明しなければならない。

D. OTC 薬品申請書（Over-the-Counter Drugs：OTC）

OTC 申請書はその名のとおり、医師の処方箋なしで消費者が購入できる OTC 一般薬品の申請書である。OTC 一般薬品の審査は、主に CDER 内の医薬品評価事務局 IV（Office of Drug Evaluation IV）が担当し、定期的に会合が行われる、非処方箋医薬品アドバイザリー諮問委員会（Nonprescription Drug Advisory Committee）のサポートを受けて行われる。

E. 生物製剤承認申請（Biological License Application：BLA）

バイオ製品は 1944 年公衆衛生法（Public Health Service Act of 1944: PHS）の規定を基に審査される。この法律は、バイオ製品が州間で商業的に売買される際のライセンスの保持を製造会社に義務付けるものである。BLA にはバイオ製品の製造過程、化学的・薬理学的・臨床薬理学的・医学的な効果などの具体的な情報が含まれている。申請が承認されると、米国市場での流通が可能になる。BLA は本章で扱うバイオ

159 http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/HowDrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/default.htm

160 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

製品の申請書であるため、基本的には CBER に送られるが、前述の一部のバイオ製品は CDER にて審査される。

4.1.3 承認プロセス

FDA のウェブサイトには申請書の書き方、規制法、臨床試験の方法などのルールが事細かに書かれている[161]。実際の FDA における新薬の承認審査は FDA の医師、統計学者、化学者、薬理学者、その他の科学者よって行われる[162]。FDA 作成のハンドブックによると、承認審査は以下の手順で行われている[163]。

A. 臨床前（スクリーニング）

申請者による動物テストを行い、それを基に FDA に申請書 IND を提出。FDA は、IND の情報を基に動物実験の結果が人間において使用された際に大きな損傷リスクを含んでいないかをチェック。また、インフォームドコンセントや人体テストへの保護が適切かを確認。

臨床実験

臨床実験は以下の 3 フェーズに分類される。

- **フェーズ 1**: 20 から 80 人の健康な被験者に対して、安全性試験を実施。このフェーズの主な目的は、副作用、新薬の代謝・排泄経路に関する知見の取得。
- **フェーズ 2**: このフェーズの主な目的は、新薬の有効性試験。数百人規模の対象者を用いて行われる。特定の疾患を持つ患者に対し、新薬が作用するかの予備データを収集。比較対象試験において、新薬を投与された患者と、プラセボ（偽薬）を投与された患者を比較。また、安全性や短期的な副作用も引き続き試験。フェーズ 2 後、FDA とスポンサーはフェーズ 3 の大規模実験を行うか協議。
- **フェーズ 3**: 数千人規模の対象者。安全性と有効性について更なるデータ収集。多様な人々と幅のある投与量、また、他の薬との組み合わせもテスト。
- **NDA 審査**: 米国で販売するための正式な申請書である NDA 提出に向け、FDA と申請者間で会合が行われる。その後、FDA が NDA を受理し、審査対象とした場合は、FDA の審査チームが新薬の安全性と有効性を、スポンサーの臨床結果を基に評価する。さらに、新薬のラベル情報の正確性や製造施設を審査後、正式な承認となる。

市場調査（リスク査定）

- **フェーズ 4**: 承認後、市場モニタリングが開始される。臨床実験であらゆる有効性やリスクを予測することは不可能な為、新薬が市場に出回ってからの安全性のモニタリングは重要。FDA は想定外のリスクを検出し、必要な際は行動に乗り出す。スポンサーは、定期的に安全性の報告を FDA に行う。

[161] http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/
[162] http://www.fda.gov/downloads/drugs/resourcesforyou/consumers/ucm284393.pdf
[163] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

4.1.4 FDA の優先審査プロセスとその種類

CDER は、新薬の重要度などによって、異なる審査プロセスを持っている。具体的には、4 種類の優先審査プロセスにて、通常の審査よりも短い時間で審査を完了させることができる。特にこの優先審査プロセスは、治療薬が以前は存在しなかった疾患用で、誰もが一刻も早い実現化を望むような医薬品に適応される。

A. 優先レビュー（Priority Review）[164]

この指定を受けると通常 10 か月の審査期間が、6 か月に短縮される。

B. ブレークスルー治療薬（Breakthrough Therapy）[165]

既に存在する治療薬に重要性の高い改良を加えることができる新薬に対して、審査を加速化させることができる。

C. 迅速承認（Accelerated Approval）[166]

アンメットメディカルニーズ[167]を満たす新薬に対しての優先審査。重篤または生命を脅かす疾患に用いる新薬を対象とし、臨床効果が代用評価項目による評価で有効であることが見極められたときには早期に新薬としての承認を与える制度。

D. ファーストトラック（Fast Track）[168]

重大な症状を治療する医薬品や、アンメットメディカルニーズを満たす医薬品に対しての優先審査。完治が難しい疾患に対し、高い治療効果が期待できそうな新薬を FDA が優先的に審査する制度。

4.2 CDER 承認の一般医薬品、バイオ医薬品の概況

4.2.1 CDER による承認数合計の概況

CDER は、一般医薬品を中心に審査・承認している機関である。CDER は毎年、年ごとに新薬承認のサマリーを冊子にして公表しており、新薬承認数や内訳などがまとめられている[169]。2014 年から過去 3 年間を同冊子で見てみると、具体的に 2014 年には CDER 全体で 41 品目が承認（一般医薬品・バイオ医薬品含む）され[170]、続く 2015 年には CDER 全体で 45 品目が承認された[171]。しかし、2016 年にはその勢いは大幅に減速し、CDER 全体の承認数は 22 品目になった[172]。2014 年、2015 年と比べ、2016 年の承認数

[164] https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405405.htm
[165] https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405397.htm
[166] https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405447.htm
[167] 一般に強く実現が望まれているにも関わらず、まだ有効な治療法が確立されておらず、医薬品などの開発が進んでいない治療分野における医療ニーズ
[168] https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405399.htm
[169] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/default.htm
[170] http://www.fda.gov/downloads/drugs/developmentapprovalprocess/druginnovation/ucm430299.pdf
[171] http://www.fda.gov/downloads/drugs/developmentapprovalprocess/druginnovation/ucm481709.pdf
[172] http://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM536693.pdf

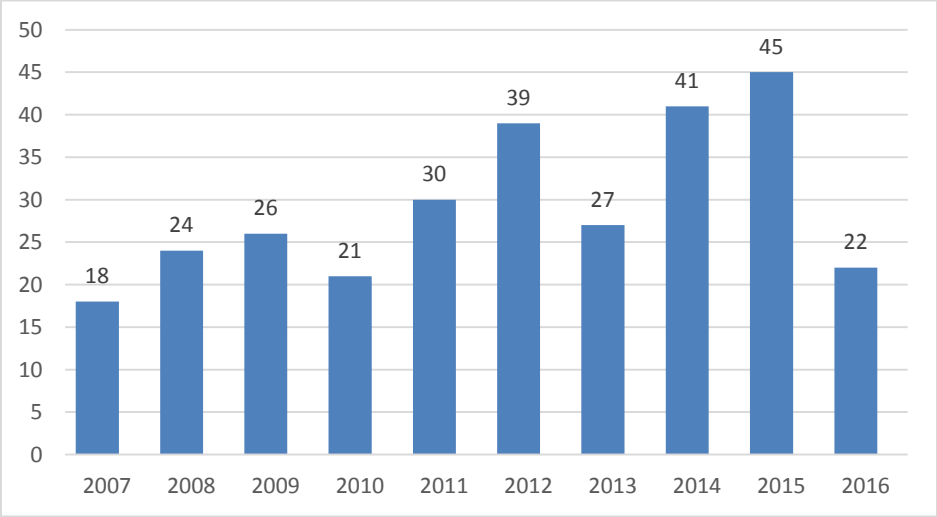
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

が少なかった背景を、CDER の新薬審査部門の John Jenkins 部長が 2016 年 12 月 14 日公表のプレゼンテーションで説明している。部長によるとその理由は主に 3 つあり、2016 年に承認される予定であった 5 つの新薬が 2015 年に承認されたこと、2016 年の新薬承認申請数自体が少なかったこと、審査完了レター[173]数の増加が挙げられている[174]。

以下の図は、CDER で承認された新薬数の 2007 年以降、過去 10 年間の承認数の推移を棒グラフにまとめたものである。

図表 39: CDER 承認の新薬数合計（一般医薬品・バイオ医薬品含む）（2007 年-2016 年）

（単位：品目）



出典：CDER[175]

4.2.2 オーファンドラッグ承認数の割合

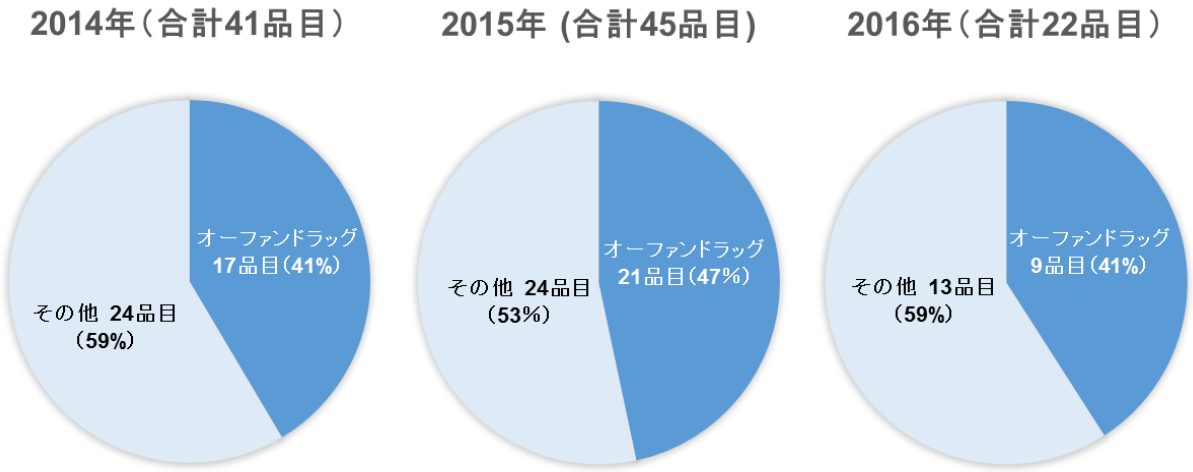
一般医薬品・バイオ医薬品のなかでも、2014 年以降の FDA 承認の特徴として、オーファンドラッグ（希少疾病医薬品）を中心に、これまでになかった治療薬の研究開発を FDA が促進していることが挙げられる。具体的には、2015 年に新しく承認された医薬品 45 品目のうち、約 47%にあたる 21 品目がオーファンドラッグであった[176]。これは、全体 41 品目の約 41%にあたる 17 品目のオーファンドラッグが承認された 2014 年[177]に引き続き 2 年連続増加であり、FDA において前例のない水準である。この傾向は、2016 年になっても続き、新しく承認された医薬品 22 品目のうち、約 41%にあたる 9 品目がオーファンドラッグに承認され

[173] “Complete Response Letter” NDA 申請に対して、FDA が「承認」「非承認」を知らせるために発行する公式レター。
[174] https://www.fda.gov/downloads/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/CDER/UCM533192.pdf
[175] http://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM536693.pdf
[176] http://www.fda.gov/downloads/drugs/developmentapprovalprocess/druginnovation/ucm481709.pdf
[177] https://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM430299.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

た[178]。こういった結果により、FDA の努力だけでなく、バイオ製薬会社やその周辺のバイオ研究への多額の開発投資などが実を結び始めてきていることが伺える。こういった多額の開発投資は、急激な成長をみせている多くの株式未公開企業やベンチャーキャピタル投資に支えられており、バイオ医療における最も大きな課題である、老化による病気、神経変性疾患、癌ワクチンなどの更なる開発研究活動を後押ししている。

図表 40: CDER 承認新薬全体に占めるオーファンドラッグの割合（2014 年 - 2016 年）



出典：CDER、2014 年サマリー[179 180 181]を基にワシントンコア作成

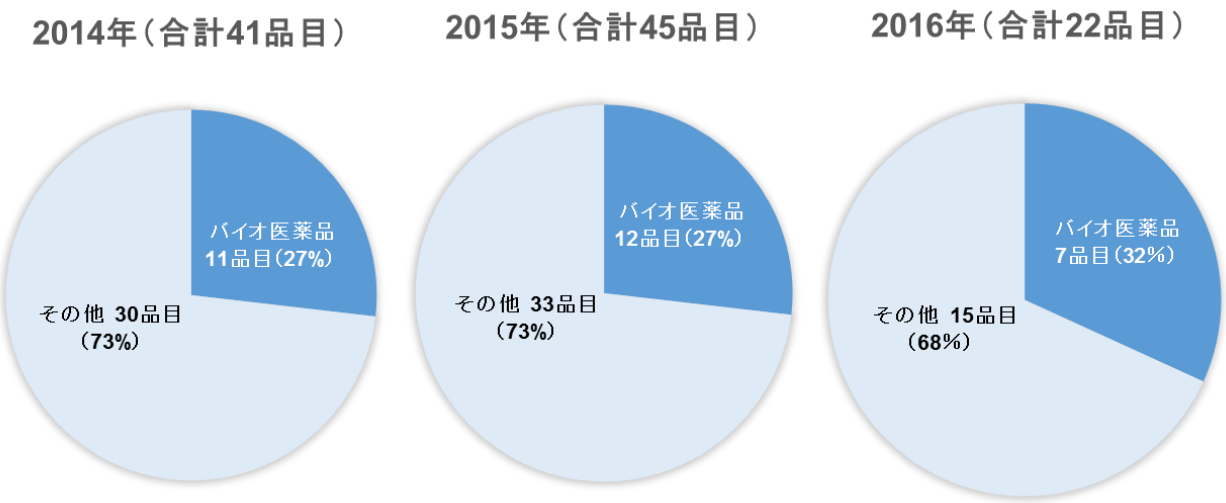
4.2.3 バイオ医薬品承認数の割合

前述のように CDER は一般医薬品と平行して一部のバイオ医薬品も承認の対象としている。具体的には、2014 年、CDER が承認したバイオ医薬品は、新薬全体の 41 品目中計 11 品目であった[182]。続く 2015 年のバイオ医薬品承認数は 45 品目中、計 12 品目であり[183]、好ビジネス環境の追い風を受けた、勢いのある 2 年間であった。また 2016 年の新薬承認全体 22 品目のうち計 7 品目がバイオ医薬品であった[184]。以下の図表は、CDER 承認新薬全体に占めるバイオ医薬品の割合を円グラフに示したものである。

178 https://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM536693.pdf
179 https://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/UCM430299.pdf
180 https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm430302.htm
181 https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm483775.htm
182 https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm429247.htm
183 https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm430302.htm
184 https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm483775.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 41: CDER 承認新薬全体に占めるバイオ医薬品の割合（2014 年 - 2016 年）



出典：CDER[185 186 187]を基にワシントンコア作成

4.3 CBER 承認のバイオ医薬品概況

前述のように、CBER はバイオ製品全般を審査・承認対象とする機関である。CBER は、BLA 申請のバイオ医薬品を中心に審査・承認しており、その他、「医薬品」ではないサプリメントや医療機器、「新薬」ではないジェネリック医薬品などバイオ製品全般を対象としているため、ここでは本章の趣旨である新薬のバイオ医薬品に限って記載する。CBER が承認したバイオ医薬品[188]は、2014 年、2015 年、2016 年とそれぞれ、20 品目[189]、13 品目[190]、15 品目[191]となった。

以下の図表は、2014 年から 2016 年までの CDER と CBER それぞれのバイオ医薬品承認数と合計承認数の推移をまとめたものである。

図表 42: バイオ医薬品承認総数（2014 年-2016 年）

[185] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm429247.htm
[186] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm430302.htm
[187] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm483775.htm
[188] 本報告書では、CBER 承認のバイオ医薬品は https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/default.htm の各年の「Biologics License Applications and Supplements」内の「Biological License Application Approvals」リストの中から計数してある。
[189] https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm385847.htm
[190] https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm434961.htm
[191] https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm482397.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

（単位：品目）

年	CDER バイオ承認数	CBER バイオ承認数	バイオ合計承認数
2014	11	20	31
2015	12	13	25
2016	7	15	22

出典：FDA ウェブサイト[192][193]

[192] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/default.htm, https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/default.htm
[193] https://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/default.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 43: 2014 年 CDER 承認のバイオ医薬品　全リスト

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
elosulfase alfa[194]	Vimizim	02/14/14	BioMarin Pharmaceuticals	ライソゾーム病の一種であるムコ多糖症 IV-A 型(モルキオ症候群)の患者への酵素補充療法[195]。	
metreleptin[196]	Myalept	02/24/14	Aegerion	先天性および後天性全身型脂肪異栄養症(congenital generalized or acquired generalized lipodystrophy)の患者を対象[197]。	高リスク治療の為、Myalept Risk Evaluation and Mitigation Strategy Program (REMS)を通してのみ利用可能。REMS 認可の薬局のみで販売[198]。
albiglutide[199]	Tanzeum	04/15/14	Glaxosmithkline, L.L.C.	成人における 2 型糖尿病の運動および食事療法との併用。血糖値の正常化を促進させる皮下注射用 GLP-1 受容体アゴニスト薬ホルモン[200]。	
ramucirumab[201]	Cyramza	04/21/14	Eli Lilly and Co.	フッ化ピリミジン系薬剤またはプラチナ製剤を含む化学療法実施中または実施後に増悪が認められた進行もしくは転移性胃癌または胃食道接合部腺癌患者に対する単剤療法[202]。	同剤は高コストによりメディアのターゲットになってきた[203]。
siltuximab[204]	Sylvant	04/23/14	Janssen Biotech	HIV および HHV8 が陰性である多中心性キャッスルマン病患者（MCD）の治療薬[205]。	希少疾患 MCD の治療薬として初の承認[206]。
vedolizumab[207]	Entyvio	05/20/14	Takeda Pharmaceuticals USA	成人の中等度から重度の活動期潰瘍性大腸炎およびクローン病治療。糖質コルチコイド・免疫調整薬・TNF 阻害薬などの治療効果が十分に認められない患者に対しての使用。インテグリン受容体拮抗薬であり、受容体間相互作用による炎症反応シグナルの伝達を阻害[208]。	• 他の同種薬でみられた進行性多病巣性白質脳症（PML）の発症は、未確認[209]。
peginterferon beta-2a[210]	Plegridy	08/15/14	Biogen Inc.	多発性硬化症に適応[211]。	• 米 Biogen 社は 2015 年に 4%、2016

194 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125460
195 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2014/125460s000lbl.pdf
196 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125390
197 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125390
198 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm387060.htm
199 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125431
200 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm393289.htm
201 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125477
202 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2014/125477lbl.pdf
203 http://fortune.com/2015/09/17/rising-drug-prices/
204 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125496
205 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2014/125496s000lbl.pdf
206 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm394522.htm
207 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125476
208 https://www.entyvio.com/
209 http://www.medicalonline.jp/news.php?t=fda&m=drug&date=2014&file=20140521-FDAP-1A.csv

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
					年に 5%、2017 年に 8%価格を上げた[212]。現在の年間治療費はおよそ8万1千米ドル[213]。
pembrolizumab[214]	Keytruda	09/04/14	Merck	免疫にブレーキをかける働きを持つ PD-1 を阻害する、抗ガン剤[215]。	• 米国で承認された最初の PD-1 阻害剤[216]。 • 米 Bristol-Meyers Squibb 社と Ono Pharmaceutical Company 社は、PD-1 癌予防薬 Keytruda を製造する米 Merck 社を特許侵害で起訴。2017 年に Merck 社が 6 億 2 千 5 百万米ドルと今後 Keytruda に発生する 2026 年までのロイヤリティを支払うことで承諾[217]。
dulaglutide[218]	Trulicity	09/18/14	Eli Lilly and Co.	2 型糖尿病患者における食事および運動療法を併用した血糖管理改善[219]。	
blinatumomab[220]	Blincyto	12/03/14	Amgen	フィラデルフィア陰性（Ph-）再発または難治性成人 B 前駆細胞急性リンパ性白血病（ALL）の治療[221]。	米 Amgen 社と米 University of Texas の MD Anderson Cancer Center は 2015 年 1 月 12 日、Amgen 社の二重特異性 T 細胞誘導（BiTE）抗体の共同研究で、提携合意したと発表。
nivolumab[222]	Opdivo	12/22/14	Bristol Myers Squibb	手術不能・化学療法無効進行メラノーマ患者に対する抗 PD-1 治療薬。免疫細胞による攻撃を回避するタンパク質 PD-1 の阻害薬で、ipilimumab 既使用患者・BRAF 阻害薬既使用 BRAF 遺伝子変異患者に対しての使用[223]。	一般的に流通している最初の免疫療法の一つ[224]。 英国国立医療技術評価機構（NICE）は 2015 年 12 月、高価格を理由に Opdivo を却下[225]。

210 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125499
211 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125499
212 http://www.bizjournals.com/boston/news/2017/01/03/biogen-boosts-price-of-top-drugs-analyst-says.html
213 https://multiplesclerosisnewstoday.com/2017/01/13/ms-drug-treatment-costs-start-year-headed-up/
214 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125514
215 https://www.keytruda.com/
216 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm412802.htm
217 http://www.businesswire.com/news/home/20170120005582/en/Bristol-Myers-Squibb-Ono-Pharmaceutical-Company-Enter-Settlement
218 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125469
219 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2014/125469Orig1s000Lbl.pdf
220 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125557
221 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2016/125557s005s006lbl.pdf
222 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125554
223 http://www.opdivo.com/
224 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm473971.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
					米 Bristol-Meyers Squibb 社と米 Ono Pharmaceutical Company 社は、PD-1 癌予防薬 Keytruda を製造する米 Merck 社を特許侵害で起訴。2017 年に Merck 社が 6 億 2 千 5 百万米ドルと今後 Keytruda に発生する 2026 年までのロイヤリティを支払うことで承諾[226]。

計 11 品目

図表 44: 2014 年 CBER 承認のバイオ医薬品　全リスト

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
coagulation factor IX (recombinant), Fc fusion protein[227]	ALPROLIX	03/28/14	Biogen Idec	• 血友病 B 型の成人・小児患者への治療薬（遺伝子組換え Fc 融合タンパク質、長時間作用型 IX 凝固因子製剤）で、以下の目的で使用される。 • 出血エピソードの管理・予防 • 手術前後マネジメント • 出血の頻度を減らす為の周期的予防 • 血友病 B 型患者の免疫寛容誘導目的には使用されない[228]。	予防若しくは出血頻度の減少を目的として初めて設計された長時間作用型血友病 B 型治療薬[229]。
Sweet Vernal, Orchard, Perennial Rye, Timothy, and Kentucky Blue Grass Mixed Pollens Allergen Extract[230]	ORALAIR	04/01/14	Stallergenes S.A.	一定のイネ科植物の花粉によって引き起こされるアレルギー性鼻炎（花粉症；結膜炎の発症の有無を問わない）治療薬[231]。	サプリメント承認[232]
Timothy Grass Pollen Allergen Extract[233]	GRASTEK	04/11/14	Merck Sharp & Dohme Corp	5 歳から 65 歳の花粉症治療薬[234]。	サプリメント承認[235]

225 http://www.reuters.com/article/us-bristol-myers-cancer-britain-idUSKBN0TZ1HT20151216
226 http://www.businesswire.com/news/home/20170120005582/en/Bristol-Myers-Squibb-Ono-Pharmaceutical-Company-Enter-Settlement
227 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm390993.htm
228 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/UCM391049.pdf
229 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm391037.htm
230 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Allergenics/ucm391287.htm
231 同上
232 同上
233 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Allergenics/ucm393162.htm
234 同上
235 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
Short Ragweed Pollen Allergen Extract[236]	RAGWITEK	04/17/14	Merck Sharp & Dohme Corp	18 歳から 65 歳の花粉症治療薬[237]。	サプリメント承認[238]
Blood Grouping Reagent, Anti-s (Monoclonal)[239]	なし	05/05/14	Millipore (UK) Ltd.	チューブ技術で検査された際に s 抗原を発見する試薬 Cell Line P3BER[240]。	
Blood Grouping Reagent, Anti-Fya (Monoclonal)[241]	なし	05/05/14	Millipore (UK) Ltd.	ゲル、カラムおよび間接的抗グロブリンチューブ技術で検査された際に Fy 抗原を発見する試薬 Cell Line P3TIM[242]。	
Blood Grouping Reagent, Anti-Fya (Monoclonal) (IgG)[243]	なし	05/05/14	Immucor, Inc.	Gamma-clone® 抗-Fya モノクローナル血液グループ化試薬 Cell Line: P3TIM	
Blood Grouping Reagent, Anti-s (Monoclonal)[244]	なし	05/05/14	Immucor, Inc.	Gamma-clone® 抗-s, モノクローナル血液グループ化試薬 Cell Line: P3BER	
Blood Grouping Reagent, Anti-S (Monoclonal)[245]	なし	05/05/14	Immucor, Inc.	Gamma-clone® 抗-S モノクローナル血液グループ化試薬 Cell Line: MS-94	
Blood Grouping Reagent, Anti-Jkb (Monoclonal)	なし	05/05/14	Immucor, Inc.	Gamma-clone® 抗-Jkb モノクローナル血液グループ化試薬 Cell Line: MS-8	
Blood Grouping Reagent, Anti-Jka (Monoclonal)	なし	05/05/14	Immucor, Inc.	Gamma-clone® 抗-Jka モノクローナル血液グループ化試薬 Cell Line: MS-15	
antihemophilic factor (recombinant), FcFusion protein[246]	Eloctate	06/06/14	Biogen Idec	抗血友病因子(遺伝子組換え型)Fc 融合タンパク質で、先天性重症血友病 A 型及び血友病 B 型の成人・小児患者へ以下の目的で使用される。 • オンデマンド療法及び標的関節への出血エピソード効果的管理	• 米 Biogen 社は 2016 年 5 月より血友病ビジネスをスピンオフし[248]、2017 年 2 月 1 月に完了[249]。 • スピオフ企業の米 Bioverrativ 社は、2017 年 2 月 14 日に NASDAQ に上

236 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Allergenics/ucm393572.htm
237 同上
238 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/Allergenics/UCM502597.pdf
239 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/BloodGroupingReagent/ucm396265.htm
240 https://www.emdmillipore.com/waroot/bioscot/en/PI119_d_2013-02.pdf
241 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/BloodGroupingReagent/ucm396265.htm
242 https://www.emdmillipore.com/waroot/bioscot/en/PI189_a_2013-02.pdf
243 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/BloodGroupingReagent/ucm396222.htm
244 同上
245 同上
246 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm399909.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
				• 手術前後の出血管理 • 年間出血率（ABR）を低値に維持[247]	場[250]。
C1 esterase inhibitor (recombinant)[251]	RUCONEST	07/16/14	Salix Pharmaceuticals	遺伝性血管浮腫（HAE）の成人用急性発作治療薬[252]。	初の遺伝子組換え C1-Esterase Inhibitor でウサギ乳由来の治療薬[253]。
immune globulin infusion 10% (human) with recombinant human hyaluronidaise[254]	HYQVIA	09/12/14	Baxter Healthcare Corporation, Baxter Bioscience	成人原発性免疫不全症患者（PI: Primary Immunodeficiency）の治療[255]。	
antihemophilic factor (recombinant), porcine sequence[256]	OBIZUR	10/23/14	Baxter Healthcare Corporation	後天性血友病 A 型の成人患者の出血エピソードの治療目的（第 VIII 凝固因子製剤）[257]。	先天性血友病またはヴォン・ヴィレブランド病には適応されない[258]。
meningococcal Group B vaccine[259]	TRUMENBA	10/29/14	Wyeth Pharmaceuticals, Inc.	10～25 歳の青少年における、髄膜炎菌血清群 B を起炎菌とする侵襲性髄膜炎菌性疾患の予防ワクチン[260]。	髄膜炎菌血清群 B を起炎菌とする侵襲性髄膜炎菌性疾患の予防ワクチンとしては米国初[261]。
human papillomavirus 9-valent vaccine, recombinant[262]	Gardasil 9	12/10/14	Merck & Co.	9 歳から 26 歳の女児・女性と 9 歳から 15 歳の男児・男性へ適応される9価 HPV 感染症ワクチン。6 型、11 型、16 型、18 型、31 型、33 型、45 型、52 型及び 58 型による感染の予防[263]。	• 現在、米国で使用されている唯一の HPV 感染症ワクチン[264]。 • 思春期以前の子供への予防接種に対して米国内で議論がある[265]。
Human T-Lymphotropic Virus Types I & II[266]	MP Diagnostics HTLV Blot	12/11/14	MP Biomedicals Asia Pacific Pte. LTD	HTLV ブロット 2.4 は HTLV 確認試験およびウイルス型識別のためのウェスタンブロット製品	米国で HTLV 確認アッセイ法が FDA により初めて承認[267]。

248 http://investors.biogen.com/press-release/biogen-announces-intent-spin-its-hemophilia-business
249 http://investors.biogen.com/press-release/hemophilia-spin/biogen-completes-separation-global-hemophilia-business-bioverativ
247 http://www.eloctate.com/
250 http://www.nasdaq.com/press-release/bioverativ-nasdaq-bivv-to-ring-the-nasdaq-stock-market-opening-bell-20170214-00889
251 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm405629.htm
252 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/UCM405634.pdf
253 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm405526.htm
254 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm414117.htm
255 http://www.hyqvia.com/
256 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm419994.htm
257 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm420263.htm
258 http://www.obizur.com/
259 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/ucm421020.htm
260 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/UCM421139.pdf
261 https://www.mixonline.jp/Article/tabid/55/artid/50740/Default.aspx
262 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/ucm426445.htm
263 https://www.cancerit.jp/32411.html
264 https://www.cdc.gov/vaccines/hcp/vis/vis-statements/hpv.html
265 http://www.npr.org/2011/09/19/140543977/hpv-vaccine-the-science-behind-the-controversy
266 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/InfectiousDisease/ucm426585.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
	2.4				
HIV-1 Group O and M, HIV-2, HCV and/or HBV (HIV-1/HIV-2/HCV/HBV/Multiplex Discriminatory NAT)[268]	cobas TaqScreen MPX Test, version 2.0 for use with the cobas s 201 system	12/19/14	Roche Molecular Systems, Inc.	献血、血漿から広い範囲のエイズウイルス（HIV）、ウイルス性肝炎感染を検出するための新しい検査法	
Source Plasma		12/22/14	Immunotek Bio Centers, LLC		

計 20 品目

図表 45: 2015 年 CDER 承認のバイオ医薬品　全リスト

（有効固有名成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
secukinumab[269]	Cosentyx	01/21/15	Novartis Pharmaceuticals	成人における中等度から重度の尋常性乾癬[270]。	• 重症アレルギー反応の発現リスクがあり、また感染症患者への使用は慎重でなければならない[271]。 • 英国では英国立医療技術評価機構（NICE）が 2016 年 8 月 4 日、英国民保健サービス（NHS）における使用を推奨する内容のガイダンス案を発表[272]。
parathyroid hormone[273]	Natpara	01/23/15	NPS Pharmaceuticals, Inc.	副甲状腺機能低下症患者における低カルシウム血症をコントロールする治療薬[274]。	骨肉腫誘発の恐れがあるため、Risk Evaluation and Mitigation Strategy Program (REMS)を通してのみ利用可能。REMS 認可の薬局のみで販売[275]。
dinutuximab[276]	Unituxin	03/10/15	United Therapeutics	顆粒球マクロファージコロニー刺激因子（GM-CSF）、インターロイキン-2（IL-2）などとの併用下で用いられ、ハイリスク神経芽細芒種（ニューロブラストーマ）の小	FDA が初めて承認したハイリスク神経芽細芒腫の特異薬[278]。

267 http://www.businesswire.com/news/home/20141216005627/ja/
268 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/InfectiousDisease/ucm427736.htm
269 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125504
270 https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/news/p1/16/08/08/01321/
271 http://www.medicalonline.jp/news.php?t=fda&m=drug&date=2015&file=20150121-FDAP-4A.csv
272 https://www.nice.org.uk/news/article/nice-draft-guidance-recommends-new-drug-for-people-with-ankylosing-spondylitis
273 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125511
274 https://www.natpara.com/
275 http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm431358.htm
276 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125516

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

（有効固有名成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
				児患者のファーストライン療法。ファーストラインの多剤療法、集学的療法に少なくとも部分的に応答のあった患者に対する手術、化学療法、放射線療法を含む集学的療法の一環として承認[277]。	
alirocumab[279]	Praluent	07/24/15	Regeneron Pharmaceuticals	ヘテロ接合性家族性高コレステロール血症や臨床アテローム動脈硬化性心血管疾患を持ち、LDL コレステロールを下げることが必要な成人の治療に使用される[280]。	
evolocumab[281]	Repatha	08/27/15	Amgen, Inc.	PCSK9（前駆タンパク転換酵素サブチシリン/ケキシン 9 型）阻害剤。血中の過剰な LDL-C（LDL コレステロール）を取り込む LDL 受容体の分解を促進する PCSK9 の働きを抑制することで、過剰な LDL-C の取り込みを促進し LDL-C を下げる新規作用機序の抗体医薬。ヘテロ接合型家族性高コレステロール血症患者（HeFH）、ホモ接合型家族性高コレステロール血症患者（HoFH）、若しくはアテローム性動脈硬化性心血管疾患患者に適応[282]。	Parulent（2015 年 7 月 24 日、FDA 承認）に次いで 2 剤目の PCSK9 阻害剤となった[283]。
idarucizumab[284]	Praxbind	10/16/15	Boehringer Ingelheim	経口抗凝固薬 Pradaxa の特異的中和剤。Pradaxa 服用時に出血性イベントが発現した場合に、同剤の効果を打ち消す[285]。	使用は血栓発生リスクを伴う[286]。
asfotase alfa[287]	Strensiq	10/23/15	Alexion Pharmaceuticals	組織非特異性アルカリホスファターゼで、周産期、幼児期および若年型低ホスファターゼ血症（HPP）の治療に使用される[288]。	HPP としては米国で初の承認[289]。 骨と歯のミネラル代謝異常による合併症を減らし、骨と歯の代謝過程を正常化させるように設計された初の酵素補充療法。
mepolizumab[290]	Nucala	11/04/15	Glaxosmithkline	重症喘息発作（増悪）の病歴のある成人および 12 歳	

278 http://www.medicalonline.jp/news.php?t=fda&m=drug&date=2015&file=20150310-FDAP-3A.csv
277 https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm437460.htm
279 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125559
280 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2015/125559Orig1s000lbledt.pdf
281 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125522
282 https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm460082.htm
283 https://www.mixonline.jp/Article/tabid/55/artid/52047/Default.aspx
284 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761025
285 https://www.praxbind.com/
286 http://www.medicalonline.jp/news.php?t=fda&m=drug&date=2016&file=20151019-FDAP-3A.csv
287 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125513
288 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2015/125513s000lbl.pdf
289 https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/news/p1/16/05/15/00703/
290 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125526

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

（有効固有名成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
			LLC	以上の少年における喘息の維持療法に使用[291]。	
daratumumab[292]	Darzalex	11/16/15	Janssen Biotech	少なくとも 3 通り以上の治療歴を有する多発性骨髄腫（MM）患者への治療[293]。	多発性骨髄腫治療に用いることが許可された初めてのモノクローナル抗体製剤。
necitumumab[294]	Portrazza	11/24/15	Eli Lilly Co.	Necitumumab 静注用、800mg/50mL（Portrazza）をゲムシタビン及びシスプラチンとの併用として、転移性扁平上皮非小細胞肺癌患者の一次治療に用いる初の生物学的製剤[295]。	
elotuzumab[296]	Empliciti	11/30/15	Bristol Myers Squibb	1 から 3 種類の前治療歴を有する多発性骨髄腫（MM）患者に対して、レブラミド（一般名：レナリドミド）およびデキサメタゾンとの併用療法（ERd）[297]。	多発性骨髄腫に対して承認された初めて、そして唯一の免疫賦活性抗体[298]。
sebelipase alfa[299]	Kanuma	12/08/15	Alexion Pharmaceuticals	リソソーム酸リパーゼ欠損症（LAL）の治療薬[300]。	希少疾患 LAL の治療薬として初の承認[301]。

計 12 品目

[291] http://www.nucala.com/
[292] http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761036
[293] http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2016/761036s004lbl.pdf
[294] http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125547
[295] http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2015/125547s000lbl.pdf
[296] http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761035
[297] http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2015/761035s000lbl.pdf
[298] http://www.bms.co.jp/press/20151208.html
[299] http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125561
[300] http://www.alexion.com/products/kanuma
[301] http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm476013.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 46: 2015 年 CBER 承認のバイオ医薬品　全リスト

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
meningococcal Group B vaccine[302]	BEXSERO	01/23/15	Novartis Vaccines and Diagnostics, Inc.	10～25 歳の青少年における、髄膜炎の血清群 B（B 群髄膜炎菌）による侵襲性髄膜炎菌性疾患の予防ワクチン[303]。	同疾患における 2 番目のワクチン[304]。
diphtheria and tetanux toxoids and acellular pertussis adsorbed and inactivated poliovirus vaccine[305]	QUADRACEL	03/24/15	Sanofi Pasteur	Quadracel は混合ジフテリア・破傷風トキソイド・無細胞百日咳吸着 (DTaP) ・不活化ポリオウイルス (IPV) の4種混合ワクチン (DTaP-IPV) 。DTaP-IPV-Hib (Pentacel) や Dap (Daptacel) の投与を 4 回受けた 4～6 歳児のみに対し、DTaP シリーズの 5 回目または IPV シリーズの 4 回または 5 回目の投与[306]。	4 種混合である為、合計接種回数を減らすことができる。 4～6 歳児に対する使用を承認された米国で2番目の DTaP-IPV[307]。
Anthrax Immune Globulin Intravenous (Human)[308]	ANTHRASIL	03/24/15	Cangene Corporation	吸入炭疽病治療薬[309]。	
coagulation factor IX (recombinant)[310]	IXINITY	04/29/15	Cangene Corporation	血友病 B 型を持つ成人及び 12 歳以上の子供の為の出血エピソードの管理・予防[311]。	
Fibrin Sealant (Human)[312]	RAPLIXA	04/30/15	The Medicines Company	術中における出血の止血剤[313]。	
Crotalidae Immune F(ab')2 (Equine)[314]	ANAVIP	05/06/15	Instituto Bioclon, S.A. de C.V.	成人および小児の北米ガラガラヘビ中毒症の治療[315]	
antihemophilic factor (recombinant)[316]	Nuwiq	09/04/15	Octapharma US	• 先天性 FVIII 欠乏の血友病 A 型の成人および小児患者へ以下の目的で使用される。 • オンデマンド療法及び出血エピソード管理 • 手術前後の出血マネジメント • 出血の頻度を減らす為の周期的予防[317]	細胞由来であり、化学修飾や他のたんぱく質と結合したものではない[318]。

302 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/ucm431374.htm
303 https://www.gsksource.com/pharma/content/gsk/source/us/en/brands/bexsero/pi/po.html?cc=27D50DDA0791&pid
304 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm431370.htm
305 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/ucm439856.htm
306 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/UCM439903.pdf
307 https://www.imic.or.jp/library/mmwr/17719/
308 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm441234.htm
309 同上
310 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm445067.htm
311 http://www.fda.gov/biologicsbloodvaccines/bloodbloodproducts/approvedproducts/licensedproductsblas/fractionatedplasmaproducts/ucm445067.htm
312 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm445340.htm
313 同上
314 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm446151.htm
315 同上
316 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm460847.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
Source Plasma		09/11/2015	HEmarus LLC		
Coagulation Factor X (Human)[319]	COAGADEX	10/20/15	Bio Products Laboratory USA, Inc.	12 歳以上の遺伝的凝固第 X 因子欠損患者に対する治療薬[320]。	現在まで単一の第 X 因子薬剤は存在しなかった[321]。
talimogene laherparepvec[322]	IMLYGIC	10/27/15	Amgen, Inc.	組換え腫瘍溶解性ウイルス製剤。皮膚や皮下およびリンパ節で再発して切除不能となったメラノーマ（悪性黒色腫）病変を対象[323]。	腫瘍溶解性ウイルス療法薬として初の FDA 承認[324]。
antihemophilic factor (recombinant), PEGylated[325]	ADYNOVATE	11/13/15	Baxalta U.S.	• 先天性血友病 A 型（ペグ化抗血友病因子、遺伝子組換え）の成人 12 歳以上の小児患者へ以下の目的での使用[326]。 • オンデマンド療法及び出血エピソード管理 • 手術前後の出血管理 • 出血の頻度を減らす為の周期的予防[327]	アイルランド Shire 社が米 Baxalta 社を買収すると 2016 年 1 月 11 日、発表[328]。
influenza vaccine, adjuvenated[329]	FLUAD	11/23/15	Seqirus, Inc.	65 歳以上のインフルエンザ予防薬[330]。	免疫賦活剤を含む初の季節的インフルエンザ予防ワクチン[331]。
von Willebrand factor[332]	VONVENDI	12/08/15	Baxalta	フォン・ヴィレブランド因子（VWF）の遺伝的欠損症であるフォン・ヴィレブランド病（VMD）治療薬。適応は、18 歳以上の成人に於ける VMD で、患者のオンデマンド療法並びに出血エピソードの管理[333]。	世界初の遺伝子組換え VWF 製剤[334]。

計 13 品目

317 http://www.nuwiq.com/en/home.html
318 http://www.octapharma.com/en/about/newsroom/press-releases/news-single-view.html?tx_ttnews%5Btt_news%5D=676&cHash=f43f9dcd137c0d309fadc28b1749e315
319 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm468110.htm
320 同上
321 http://www.medicalonline.jp/news.php?t=fda&m=drug&date=2016&file=20151020-FDAP-2A.csv
322 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ApprovedProducts/ucm469411.htm
323 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ApprovedProducts/UCM469575.pdf
324 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm469571.htm
325 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm471752.htm
326 http://www.adynovate.com/
327 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/UCM472594.pdf
328 http://newsroom.baxalta.com/press-releases/press-release-details/2016/Shire-to-Combine-with-Baxalta-Creating-the-Global-Leader-in-Rare-Diseases/default.aspx
329 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/SafetyAvailability/VaccineSafety/ucm473989.htm
330 http://www.fluad.com/
331 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm474295.htm
332 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm473207.htm
333 http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/UCM476176.pdf
334 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm476065.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 47: 2016 年 CDER 承認のバイオ医薬品　全リスト

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
obiltoxaximab[335]	Anthim	03/18/16	Elusys Therapeutics, Inc.	肺炭疽の治療薬[336]。	
ixekizumab[337]	Taltz	03/22/16	Eli Lilly and Company	全身療法又は光線療法の適用となる成人の中等症から重症の尋常性乾癬患者の治療[338]。	
reslizumab[339]	Cinqair	03/23/16	Teva Pharmaceuticals	18 歳以上の成人における重症喘息治療薬[340]。	
atezolizumab[341]	Tecentriq	05/18/16	Genentech	転移性もしくは局所後期の尿路上皮癌[342]。	白金製剤を使った治療の間に、あるいは治療の後に、疾患が悪化した患者、もしくは手術前((術前補助療法)あるいは手術の後(補助療法)の白金製剤による治療を受けてから 12 カ月の間に疾患が悪化した患者[343]
daclizumab[344]	Zinbryta	05/27/16	Biogen, Inc.	再発性多発性硬化症(RMS)の治療[345]。	米国では、安全性プロフィールのため、成人の RMS 患者で、2 回以上の処方が奏効しなかった MS 患者に限って処方が認められている[346]
olaratumab[347]	Lartruvo	10/19/16	Eli Lilly and Company	放射線治療または外科治療による治癒が望めない軟部組織肉腫（STS）で、アントラサイクリンの適応と見なされる患者の治療[348]	ドキソルビシンと共に使用される。ドキソルビシン以来、同疾患適応の 40 年ぶりの新薬[349]。
bezlotoxumab[350]	Zinplava	10/21/16	Merck Sharp Dohme	クロストリジウム・ディフィシル感染症（CDI）適応の抗菌薬により治療中で、再発リスクの高い 18 歳以上の患者に対する再発予防[351]。	

335 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125509
336 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm491470.htm
337 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=125521
338 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm491872.htm
339 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761033
340 同上
341 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761034
342 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm501762.htm
343 同上
344 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761029
345 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm504000.htm
346 https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/news/p1/16/06/06/00861/
347 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761038
348 http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm525878.htm
349 https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/news/p1/16/10/23/01745/
350 http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&varApplNo=761046

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

計7品目

図表 48: 2016 年 CBER 承認のバイオ医薬品 全リスト

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
autologous cultured chondrocytes on porcine collagen membrane	MACI	12/13/16	Vericel Corporation	成人患者における症候性の膝軟骨全層欠損の修復を目的とした移植技術[352]	
West Nile Virus Nucleic acid test for use in the cobas 6800/8800 Systems	cobas® WNV	11/02/16	Roche Molecular Systems, Inc.		
Blood Grouping Reagent, Anti-B (Murine Monoclonal) (IgG) (Formulated for Automated Testing)	IH-Card	10/21/16	Bio-Rad Medical Diagnostics GmbH	赤血球凝集やゲルろ過を用いた血液型検査、人間の赤血の抗原分類サンプルの IH-1000 Analyzer System に使用される IH-Card BGR 製品用[353]。	
IH-Card AHG Anti-IgG,-C3d	Anti-Human Globulin (Rabbit/Murine Monoclonal) (Formulated for Automated Testing)	10/21/16	Bio-Rad Medical Diagnostics GmbH	IH-Cards AHG Anti-IgG, -C3d 製品で使用される、抗体の発見と IH Analyzer System を用いた直接的間接的抗グロブリンテストでの人体内の赤血球の補足[354]。	
Blood Grouping Reagent, Anti-D (Monoclonal Blend) (Formulated for Automated Testing)	IH-Anti-D (RH1) Blend	10/21/16	Bio-Rad Medical Diagnostics GmbH	IH-1000 Analyzer System の Low Saline Solution (LISS) – Indirect Antiglobulin Test における弱く部分的な D antigen (including DVI) の使用。IH-Card AHG Anti-IgG と共に使用される[355]。	
Blood Grouping Reagent, Anti-D (Human/Murine Heterohybridoma) (For Further	Cell Line: ESD1M	10/21/16	Alba Bioscience Limited	生体外 Blood Grouping Reagents 製品製造者によって使用される[356]。	

351 http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2016/761046Orig1s000ltr.pdf
352 https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm533153.htm
353 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/BloodGroupingReagent/ucm526649.htm
354 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/BloodDonorScreening/BloodGroupingReagent/ucm526640.htm
355 同上
356 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm482397.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
Manufacturing Use)					
Blood Grouping Reagent, Anti-E (Human/Murine Monoclonal)(For Further Manufacturing Use)	Cell Line: DEM1	10/21/16	Alba Bioscience Limited	生体外 Blood Grouping Reagents 製品製造者によって使用される[357]。	
HIV-1 Group O and M, HIV-2, HCV and/or HBV (HIV-1/HIV-2/HCV/HBV/Multiplex Discriminatory NAT/pool testing)	cobas® MPX	10/20/16	Roche Molecular Systems, Inc.	血漿と漿液内の HIV-1 Group M RNA, HIV-1 Group O RNA, HIV-2 RNA, HCV RNA, HBV DNA を発見するための質的な生体外核酸試験に使用される[358]。	
Immune Globulin Subcutaneous (Human), 20% Solution	CUVITRU	09/13/16	Baxalta US Inc.	成人および 2 歳以上の小児患者の Primary humoral immunodeficiency (PI)の補充療法[359]。	
HPC, Cord Blood	Clevecord	09/01/16	Cleveland Cord Blood Center	幹細胞移植に使用される[360]。	
Cholera Vaccine Live Oral	Vaxchora	06/10/16	Pax Vax Bermuda Ltd.	血清型 O1 コレラ菌によるコレラ流行地域への旅行者向け（18～64 歳の成人）コレラ予防経口ワクチン[361]。	FDA が初めて承認したコレラ予防ワクチン[362]。
Antihemophilic Factor (Recombinant), Single Chain	AFSTYLA	05/25/16	CSL Behring, LLC	血友病 A の成人・小児患者に対し、出血頻度を下げる定期補充療法、出血時に対するオンデマンド療法、また、手術前後の出血管理に使用[363]。	最初で唯一の遺伝子組換え血液凝固第 VIII 因子シングルチェーン（SC）製剤[364]。
Antihemophilic Factor (Recombinant)	KOVALTRY	03/16/16	Bayer HealthCare, LLC	非修飾の完全長組換え型血液凝固第 VIII 因子製剤。成人や小児の血友病 A の治療に使用[365]。	
Coagulation Factor IX (Recombinant),	IDELVION	03/04/16	CSL Behring Recombinant	血液凝固第 IX 因子（遺伝子組換え）アルブミン融合製剤。血友病 B 治療用製剤[366]。	米 CSL Behring 社は 2016 年 5 月 11 日、IDELVION の 7 年間の独占販売権

357 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm482397.htm
358 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/DevelopmentApprovalProcess/BiologicalApprovalsbyYear/ucm482397.htm
359 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm520574.htm
360 http://journals.lww.com/oncology-times/Fulltext/2016/10250/FDA_Approves_Clevecord_for_Stem_Cell_Transplants.17.aspx
361 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/Vaccines/ApprovedProducts/ucm505866.htm
362 https://www.mixonline.jp/Article/tabid/55/artid/54236/Default.aspx
363 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm503252.htm
364 http://www.cslbehring.co.jp/s1/cs/jpjp/1154051148566/news/1252902753509/prdetail.htm
365 http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedProductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/ucm491116.htm
366 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

固有名（有効成分）	商標名	承認年月日	製造元	用途	備考
Albumin Fusion Protein			Facility AG		を FDA より取得[367]。
HPC, Cord Blood	なし	01/28/16	Bloodworks	遺伝性、後天性または骨髄破壊的治療による造血システム障害の 2014 患者の、非血縁ドナー造血前駆細胞移植において、造血および免疫再構築の為の適切な分取摂生[368]。	

計 15 品目

[367] http://www.cslbehring.com/newsroom/IDELVION-receives-7-years-of-marketing-exclusivity-from-FDA?tabSelections=1255923338766&currentPage=6
[368] http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ApprovedProducts/ucm483851.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

5　連邦政府関連の資金調達の状況

本章では、米国の主要政府機関におけるバイオテクノロジーに関する研究開発の近年の予算傾向を取り上げる。特に、バイオテクノロジー研究に影響を与える、2016 年 12 月に成立した「21 世紀治療法（21st Century Cures Act）」について解説する。

5.1　国立衛生研究所（NIH）

保健福祉省（Department of Health and Human Service: HHS）傘下にある、国立衛生研究所（National Institute of Health: NIH）はライフサイエンス分野への資金補助を行う機関として世界でも最大規模の予算を誇り、最も権威がある。1887 年に海軍病院に設置された研究室の一室から始まり、1891 年にワシントン D.C.地域へと移設をした[369]。およそ 84%の NIH 資金が 6 万以上の研究や訓練、30 万人以上の研究者に渡っている。また、148 人のノーベル受賞者が、研究課程で NIH からのサポートを受けている[370]。NIH の補助金によるプロジェクトはまた、「研究活動を、人命を救う商業的な治療に移行させる」ことに主眼を置く、独自の実践的立場を取っており、実際の治療へと導く発見が非常に重要となる[371]。

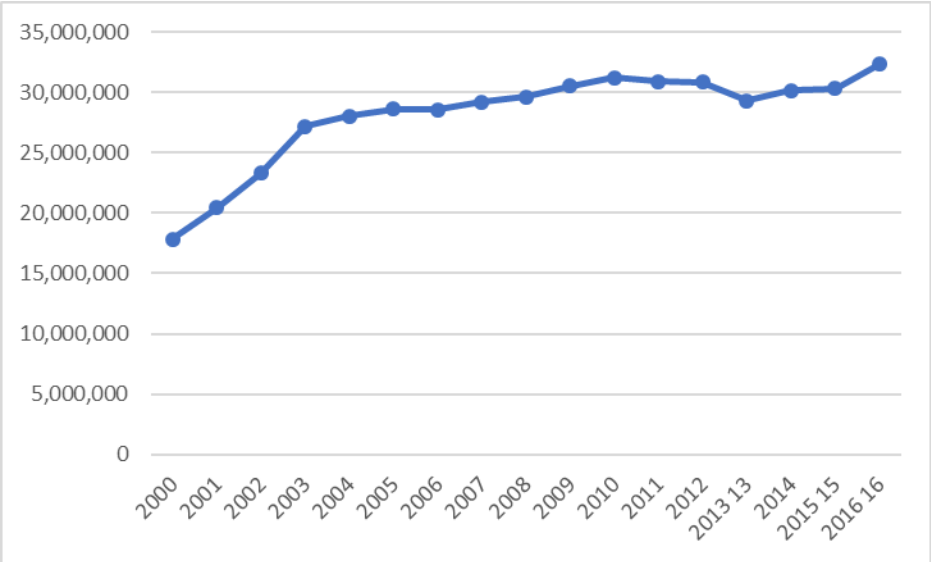
以下図表からもわかる通り、2003 年から 2015 年までの 12 年間の NIH 年間予算はほぼ横ばいで、2012 年から 2015 年にかけて NIH からバイオテクノロジー分野への資金は全体的に 3%減少している[372]。NIH は、過去 10 年の間に購買力が 22%低下する結果となった[373]。その理由の一つが 2008 年から 2009 年にかけて米国経済に打撃を与えた深刻な金融危機で、ほとんどの分野が 2013 年になるまで顕著な回復をみせることはなかった。他の理由として、2013 年に発効した強制歳出削減により、結果的に NIH の予算が 5%減少したことも挙げられる[374]。

[369] https://history.nih.gov/exhibits/history/index.html
[370] http://faseb.org/Portals/2/PDFs/opa/2016/Federal_Funding_Report_FY2017_FullReport.pdf
[371] https://www.bio.org/sites/default/files/BIO%202016_Report_FINAL_DIGITAL.pdf
[372] 同上
[373] https://www.technologyreview.com/s/602856/whats-trumps-plan-for-us-biomedical-research
[374] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 49: NIH 予算推移(2000 年 - 2017 年)

(単位 1,000 ドル)



出典:NIH の資料を基にワシントンコア作成[375]

近年、バイオテクノロジー分野において製薬会社などは、製品化に近い臨床研究などのいわゆる橋渡し研究に対する出資に力を注いでいるため、イノベーティブな研究、特に基礎研究などへの資金提供が減少傾向にあるという。一方、NIH 予算の半分以上は常に基礎研究へ出資されているため、同機関のバイオテクノロジー分野への貢献は大きい[376]。

NIH は 27 の独立した研究所・センターにより組織されている。これらを所長事務局(Office of Director: OD)が統括している。各研究所・センターの予算は以下図表の通りである。

図表 50: NIH 研究所別予算の推移(2013 年 - 2016 年)

(単位:1,000 ドル)

NIH研究所	2013	2014	2015	2016
国立癌研究所(NCI)	4,807,450	4,923,238	4,950,396	5,214,701
国立心臓・肺・血液研究所(NHLBI)	2,918,317	2,988,605	2,997,870	3,115,538
国立歯研究所(NIDCR)	389,274	398,650	399,886	415,582
国立糖尿病・消化器・腎研究所(NIDDK)	1,845,601	1,883,474	1,899,681	1,968,357
国立神経異常・発作研究所(NINDS)	1,541,480	1,587,982	1,605,205	1,696,139
国立アレルギー感染症研究所(NIAID)	4,256,327	4,358,841	4,358,841	4,629,928
国立一般医学研究所(NIGMS)	2,303,204	2,364,147	2,371,476	2,512,073
国立小児・人間発達研究所(NICHD)	1,252,430	1,282,595	1,286,571	1,339,802
国立眼研究所(NEI)	666,036	682,077	684,191	715,903
国立環境健康科学研究所(NIEHS)	724,597	742,788	744,851	771,051

[375] https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-1
[376] https://nexus.od.nih.gov/all/2016/03/25/nihs-commitment-to-basic-science/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

NIH研究所	2013	2014	2015	2016
国立老化研究所（NIA）	1,045,849	1,171,038	1,199,468	1,600,191
国立関節炎・筋肉・皮膚研究所（NIAMS）	507,822	520,053	521,665	542,141
国立聴覚・伝達障害研究所（NIDCD）	394,546	404,049	405,302	423,031
国立精神健康研究所（NIMH5）	1,403,005	1,446,172	1,463,036	1,548,390
国立薬物乱用研究所（NIDA）	998,389	1,025,435	1,028,614	1,077,488
国立アルコール乱用・依存症研究所（NIAAA）	435,535	446,025	447,408	467,700
国立看護研究所（NINR）	137,213	140,517	140,953	146,485
国立ヒトゲノム研究センター（NHGRI）	486,104	497,813	499,356	518,956
国立画像生物医学・生物工学研究所（NIBIB）	320,697	329,172	330,192	346,795
国立マイノリティ健康格差研究所(NIMHD)	262,011	268,322	269,154	279,718
国立代用医薬品研究所（NCCAM）	121,373	124,296	124,681	130,789
国立先進トランスレーショナル科学センター（NCATS）	545,336	633,267	635,230	685,417
フォガーティ国際センター（FIC）	65,988	67,577	67,786	70,447
国立医学図書館（NLM）	320,016	327,723	336,939	394,664
所長事務局（OD）	1,448,420	1,400,134	1,413,734	1,571,200
構造設備プログラム（B&F）	118,802	128,663	128,863	128,863
合計	29,315,822	30,142,653	30,311,349	32,311,349

出典：NIH の資料を基にワシントンコア作成[377]

予算規模は、国立癌研究所（National Cancer Institute: NCI）が最も大きく、国立アレルギー感染症研究所（National Institute of Allergy and Infectious Diseases: NIAID）、国立心臓・肺・血液研究所（National Heart, Lung, and Blood Institute：NHLBI）、国立一般医学研究所（National Institute of General Medical Sciences: NIGMS）、国立糖尿病・消化器・腎研究所（National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases: NIDDK）が続く。上図表からもわかる通り、過去長らく停滞していた NIH の予算は近年増加傾向にあり、バイオテクノロジー研究への出資にも貢献をしている。データベースなど研究基盤の整備を行う情報技術センター（Center for Information Technology: CIT）などにおいても、バイオテクノロジー分野のインフォーマティクスの促進に取り組んでおり、国立医学図書館（National Library of Medicine: NLM）においてもバイオテクノロジーの研究資料を一般に公開するなど、NIH の多くの研究所においてバイオテクノロジー分野を支援する体制が包括的に整っている。

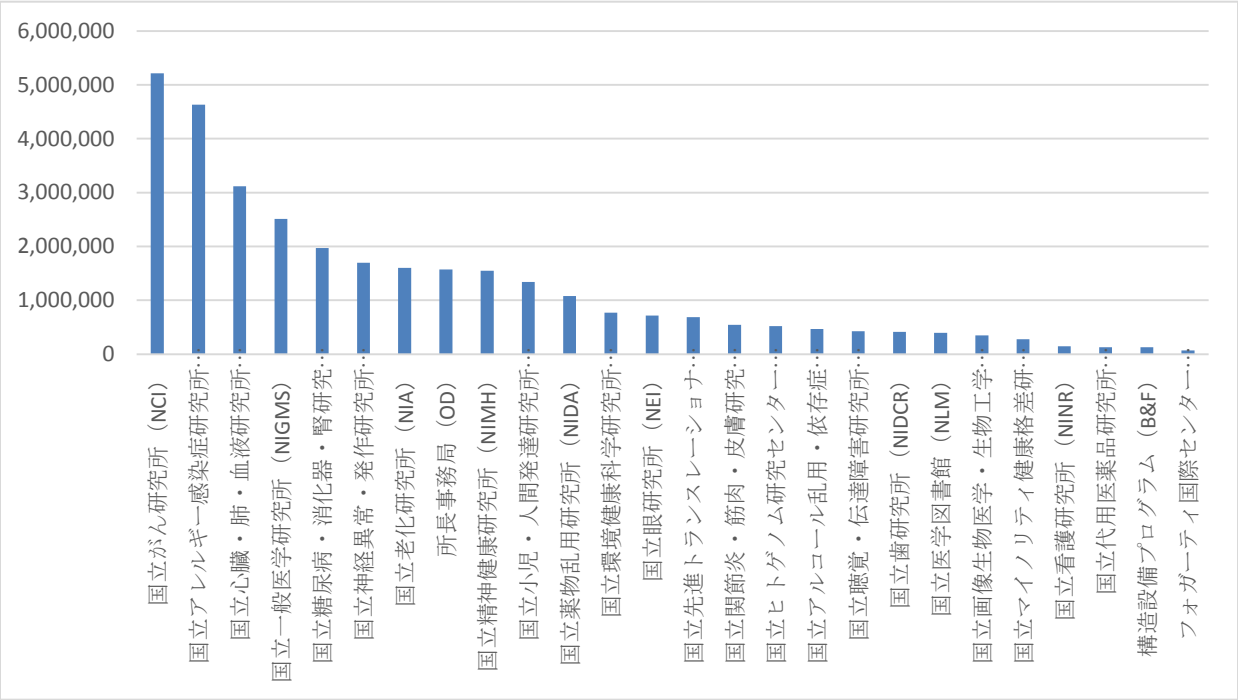
以下の図表は、2016 年の NIH の研究所別予算を棒グラフにまとめたものである。

[377] https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-1

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 51: NIH 研究所別予算の比較(2016 年)

(単位 1,000 ドル)



出典:NIH の資料を基にワシントンコア作成[378]

5.2 国立科学財団(NSF)

国立科学財団(National Science Foundation: NSF)は連邦政府機関で唯一、基礎研究を支援している。NSF からの補助金の合計額は、政府機関から給付される全ての基礎研究資金の約 24%を占めており、毎年約 20 万人の科学者、エンジニア、教育者、学生が返還不要の助成金を受けている[379]。フェローシップ・プログラムでは、STEM 分野で高度な教養を持った大学院生らに十分な教育と訓練を提供して、次世代の科学分野を担うための人材を輩出することにも力を入れている。実際、これまでに 200 人以上のノーベル賞受賞者が NSF から資金援助をうけており、米国の科学技術分野の振興に大きな影響をもたらしたといえる。NSF の傘下であり、ライフサイエンス分野とバイオテクノロジー分野に対して支援を行う生物科学局(Directorate for Biological Sciences: BIO)は、「生命を理解する発見の促進(Enabling discoveries to understand life)」をミッションとし、以下の 5 つの部門で構成されている[380]。

[378] https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-1
[379] http://faseb.org/Portals/2/PDFs/opa/2016/Federal_Funding_Report_FY2017_FullReport.pdf
[380] https://www.nsf.gov/bfa/dias/policy/outreach/grantsconf/bio_nov16.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

A. バイオインフラ部門（Division of Biological Infrastructure: DBI）

DBI はバイオテクノロジー研究を支えるインフラシステムの構築を担っている。研究施設、研究者間のコミュニケーション、研究器具等の改善・普及や、バイオインフォーマティクスの発展に寄与している。同部門は、人的リソースと、研究リソースを支援する 2 つのプログラムで構成されている。

B. 環境バイオ部門（Division of Environmental Biology: DEB）

DEB は人類、生物、地域やエコシステムなどの進化や、生物の多様性に関わる研究を支援する部門で、エコシステム科学（Ecosystem Science）、進化過程研究（Evolutionary Process）、人口・コミュニティ生態学（Population and Community Ecology）、生物多様性体系（Systematics & Biodiversity Science）の 4 セクションで構成されている。

C. 統合生物システム部門（Division of Integrative Organismal Systems: IOS）

IOS は、植物、動物、微生物等の生体に関連した研究を支援しており、行動システム（Behavioral Systems）、発展システム（Developmental Systems）、神経システム（Neural Systems*）、生理・構造システム（Physiological and Structural Systems）、植物ゲノム研究プログラム（Plant Genome Research Program）の 5 セクションで構成されている。

D. 分子・細胞バイオ科学部門（Division of Molecular and Cellular Biosciences: MCB）

MCB は分子、細胞レベル下、細胞レベルにおいて生命を理解するための研究を支援している。同部門は、細胞ダイナミクスと構造（Cellular Dynamics and Function）、遺伝子メカニズム（Genetic Mechanisms）、分子生物物理学（Molecular Biophysics）、システム・合成生物学（Systems and Biology）の 4 セクションで構成されている。

E. 先端フロンティア部門（Division of Emerging Frontiers: EF）

EF は複数の分野にわたるバイオサイエンス研究を管轄している。現在は、脳科学研究における研究リソース、計器、テクノロジー発展・普及を促進し、次世代神経科学研究ネットワーク Next Generation Networks For Neuroscience（NeuroNex）[381]や、生物圏と大陸、気候、土地利用などの複雑な関係性に関わる研究を支援する MacroSystems Biology and Early NEON Science[382]などのプログラムが実施されている。

以下図表は、生物科学局の部門別予算推移を示している。2010 年以降は横ばいであるが、EF については 2015 年度から 2017 年度まで 60%上昇している。この理由は、2013 年にオバマ前米大統領が発表した省庁横断プログラムの「BRAIN（Brain Research through Advancing Innovative Neurotechnologies）イニシアチブ」（後述）の研究を EF が担っていることにある。EF の予算増額を受けて、生物科学局全体の

[381] https://www.nsf.gov/pubs/2016/nsf16569/nsf16569.htm
[382] https://www.nsf.gov/pubs/2016/nsf16521/nsf16521.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

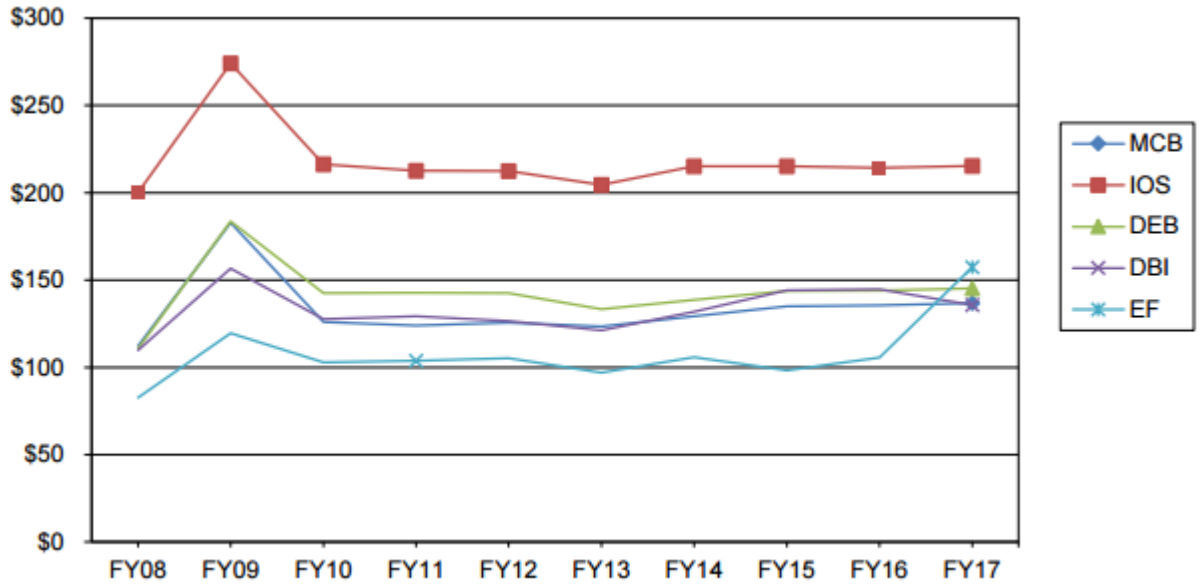
予算は 2016 年度から 2017 年度の間に 6.2%増加しているおり、主に、基礎研究などへの資金援助や若手研究者や大学院生へのサポートに充てられている[383]。

[383] https://www.nsf.gov/about/budget/fy2017/pdf/17_fy2017.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 52: NSF 生物科学局の部門別予算推移

（単位:100 万ドル）



出典:NSF[384]

NSF においても、バイオテクノロジー研究への出資が行われているものの、ライフサイエンス分野に特化した研究は NIH に集中しているため、NSF の方がより広範な科学研究に特化していることが違いとなる[385]。

5.3 退役軍人省医療及び人工研究プログラム

退役軍人省（Department of Veterans Affairs: VA）の医療研究は“超探偵（Super Sleuth）”という異名を持つほど、画期的な成果を残すことが多い。米国内では 3,400 人の VA 所属の研究者がおり、数百万人の退役軍人の遺伝子情報を含む詳細な医療データを保持している[386]。VA の医療・補綴研究プログラム Medical and Prosthetic Research Program は退役軍人に対するヘルスケアイノベーションを先導しているが、研究成果は最終的にヘルスケア全域に大きな影響を及ぼしている。VA 研究者の 70%が実際に患者とのやりとりを行う現役の医師であり、日々の治療体験が研究の問題提起、解決に繋がり、VA から出資された研究は疾病の基本メカニズムの理解を深め、新たな治療法を発見するなど、画期的な成果を得る傾向が強い。また、VA はバイオテクノロジー事業とのパートナーシップも組んでおり、人工装具の開発や治療研究などを促進している。製薬会社とパートナーシップを組み、効果的な治験を行い、ワクチンの開発などに成功している。近年はビタミン E が低度のアルツハイマーの進行を遅らせることができるという研究結果などを発表している[387]。

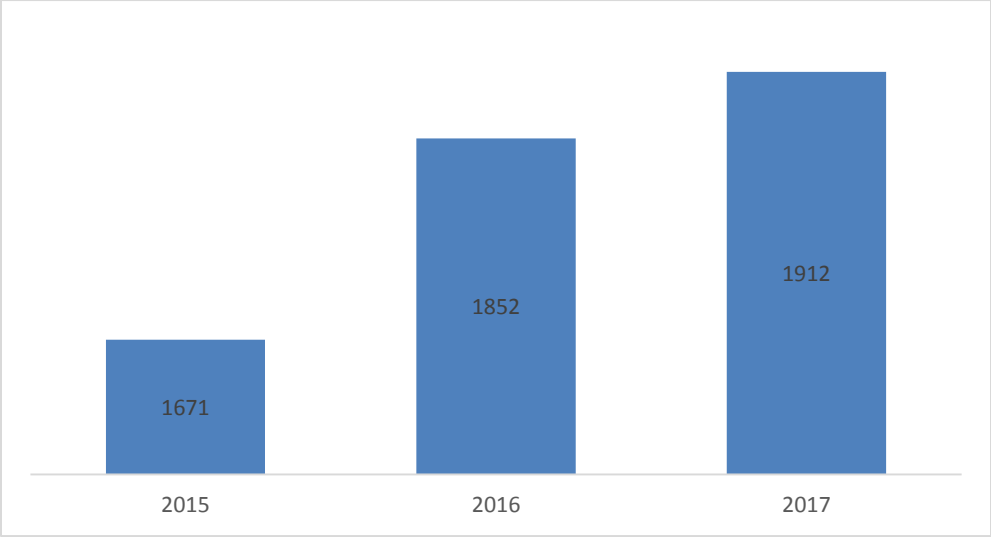
[384] https://www.nsf.gov/about/budget/fy2017/pdf/17_fy2017.pdf
[385] https://uminfopoint.umsystem.edu/media/ed/NIHvsNSF_Comparison_special_report.pdf
[386] http://www.blogs.va.gov/VAntage/12678/va-research-breakthroughs-and-discoveries-improve-the-lives-of-veterans-and-more/
[387] http://faseb.org/Portals/2/PDFs/opa/2016/Federal_Funding_Report_FY2017_FullReport.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

2016 年 6 月に、VA は IBM Watson と癌研究での提携を発表した。VA の研究者は癌患者の DNA をシークエンスし、IBM Watson を使い癌の原因であると考えられる突然変異を識別し、個々人の患者にあった治療法を見出すという、従来時間のかかっていた過程をより効率的に行う。この提携開始から 2 年の間で 1 万人以上の退役軍人の癌患者に対して、この治療を提供したいとしている[388]。

図表 53: 退役軍人省 Medical and Prosthetic Research Program の予算推移（2015 年 - 2017 年）

（単位:100 万ドル）



出典: Department of Veterans Affairs[389]の資料を基にワシントンコア作成

VA においては、このように官民連携も進んでおり、以上図表からもわかる通り研究関連予算は過去 2 年で上昇傾向にある。2017 年度の予算要求において、既存のプログラムへの予算を削減しているにも関わらず全体の予算が上昇しているのは、更なるゲノムデータベースの構築、拡大への投資のためであると説明している[390]。

5.4 公衆衛生安全保障予算

米国における政府のバイオテクノロジー分野への投資には、安全保障や国際保健の観点を含んだ公衆衛生安全保障（Health Security）というカテゴリーが存在する。生物・核兵器やそれらを利用したテロリズムの脅威、原発事故の可能性に加え、2014 年のエボラ出血熱、2016 年のジカ熱に見られるように、感染症も以前に増して国際的に重要な問題となり得る。これらの緊急事態、国際的な感染症流行などに対応し得る研究やインフラの設置に複数の連邦政府機関が予算を設置している。エボラ出血熱などの世界的な影響を受け、連邦政府における 2016 年におけるバイオディフェンス予算は大幅に増額した。Johns Hopkins 大学の公衆衛生安全保障の専門家によると、連邦政府の予算は大きく 5 分野に分類される。

[388] http://www.pcmag.com/news/345725/va-using-ibms-watson-for-cancer-research
[389] https://www.va.gov/budget/docs/summary/Fy2017-VolumeII-MedicalProgramsAndInformationTechnology.pdf
[390] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

A. バイオディフェンスプログラム（Biodefense Programs）

生物兵器による攻撃や、国民に危険を及ぼす生物薬品等が事件的に流出する際の対策

B. 放射線・核物質プログラム（Radiological and Nuclear Programs）

核兵器攻撃や核物質が放出する事件への対策

C. 化学プログラム（Chemical Programs）

化学兵器の使用や化学物質が放出を予防、それらが起きた際の対策を国内問わず国際的に行う

D. インフルエンザ・感染症プログラム（Pandemic influenza and Emerging Infectious Diseases Programs）

自然発生したインフルエンザや感染症などの大流行への対策

E. 複数の危機対策プログラム（Multiple-Hazard and Preparedness Programs）

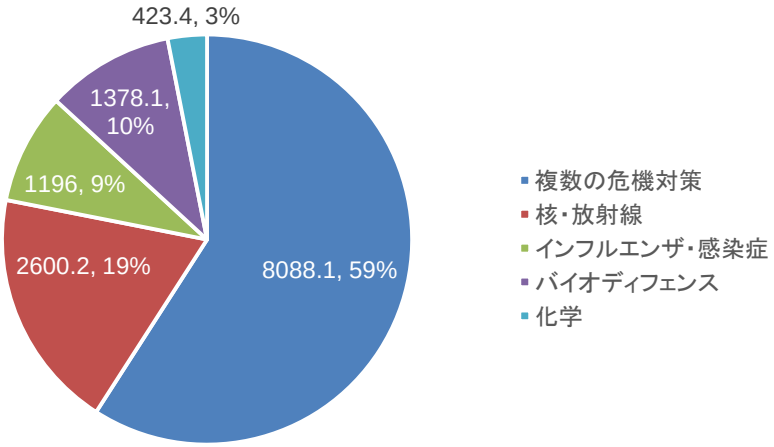
国民の健康被害を及ぼす複数の危機に対応するプログラム

2016 年度の連邦政府予算を以上の 5 分野で分けた場合、以下のような割合で充てられている。これらの分析は 2004 年に「バイオディフェンス予算分析」として開始されたが、これら予算は核・放射線や感染症などの分野とも関係性があるため、「公衆衛生安全保障」というより広義な観点で 2014 年から分析されるようになった。

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 54: 連邦政府公衆衛生安全保障予算割合（2016 年）

（単位：100 万ドル）



出典：Health Security[391]の資料を基にワシントンコア作成

この中でも、ライフサイエンス分野の観点がより中心に置かれているインフルエンザ・感染症プログラムと複数の危機対策プログラムの対象省庁別に予算推移を見ると以下図表のようになる。

図表 55: 省庁別公衆衛生安全保障ライフサイエンス分野の予算推移（2011 年-2016 年）

（単位：100 万ドル）

インフルエンザ・感染症プログラム						
	2011	2012	2013	2014	2015	2016
福祉保健省	822.1	801.8	821.3	957.0	959.7	1142.8
国際開発庁	47.9	58.0	54.9	72.1	50.0	50.0
国防総省	-	-	-	-	-	3.2
総額	870.0	859.8	876.2	1,029.1	1,009.7	1,196.0
複数の危機対策プログラム						
	2011	2012	2013	2014	2015	2016
福祉保健省	4,238.1	4,149.0	3,959.4	4,261.6	4,244.3	4,962.3
国土安全保障省	1,8015.5	2,148.2	2,246.1	2,018.6	1,726.4	1,732.4
国防総省	554.1	555.8	531.9	654.3	310.1	615.6
国務省	234.1	216.6	200.5	223.3	196.6	201.6
環境保護庁	381.2	295.0	289.3	287.0	279.3	288.5
司法省	88.0	87.0	84.0	92.0	93.0	96.6
NSF	77.9	78.8	78.3	78.3	77.3	77.3
商務省	66.0	56.6	52.3	55.6	56.2	58.8
農務省	49.0	54.0	53.0	54.0	54.0	54.0
退役軍人省	1.3	0.7	0.5	1.0	1.0	1.0
総額	**7,495.2**	**7,641.7**	**7,495.4**	**7,725.7**	**7,338.2**	**8,088.1**

出典：Health Security[392]

[391] https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4486714/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

ここからわかる通り、感染症対策には、保健福祉省のみならず国際開発庁や通商に関わる商務省、貨物の受け入れなどを管轄する国土安全保障省など複数の省庁が関係している。それぞれのプログラムには、これらの対策となる医薬品を開発・提供する企業へのインセンティブなどもある。その一例として 2004 年に成立したバイオシールド法（Project BioShield Act）は、化学、生物、放射性物質、核（Chemical, biological, radiological, and nuclear: CBRN）兵器に対する対策用の医薬品調達のため、10 年間に渡り 56 億ドルが効果的な医薬品を開発した製薬会社に対してインセンティブとして設けられた[393]。同法によって設定されている特別積立額（Project Bioshield Special Reserve）は 2015 年度予算の 2 億 6,000 万ドルから 2016 年度には 5 億 1,000 万ドルに増額された。この増額により、対策用医薬品の獲得スピードを早める狙いがある。

2016 年度には、別のプログラム予算も増額されている。保健福祉省の事務局の一つで公衆衛生における脅威に対する対策を管轄する、Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response（ASPR）は 6 つのオフィス[394]がある。そのうちの一つである Biomedical Advanced Research and Development Authority（BARDA）は世界的な脅威となり得る感染症や、CBRN 兵器が使用された際の医薬品の応用研究を管轄するほか、米国の感染症対策の戦略（BARDA Strategic Plan）によるガイドラインの設定を行っている。この BARDA の予算も 2015 年度の 4 億 1,500 万ドルから 2016 年度は 5 億 1,100 万ドルに増額された[395]。2017 年度の予算においては、BARDA 予算は 5 億 1,200 万ドル、Project BioShield は 3 億 5,000 万ドルが充てられている。また、疾病予防センター（Center for Disease Control and Prevention: CDC）による感染症流行や CRBN 対策の薬剤の備蓄の管理、配置、保存費用を賄う Strategic National Stockpile の予算には 5 億 7,000 万ドル、HHS によるインフルエンザ流行対策費用となる Pandemic Flu には 1 億 2,500 万ドルが計上されている[396]。

5.5 21 世紀治療法の成立

2016 年 12 月、下院本会議を 392 対 26、上院本会議を 94 対 5 という超党派の圧倒的な支持を得て、21 世紀治療法（21st Century Cures Act）が成立した。2010 年に成立した患者保護並びに医療費負担適正化法（Patient Protection and Affordable Care Act: ACA）（通称オバマケア）以来の大規模なヘルスケア法制度とされており、医学研究への資金援助を増やすほか、メンタルヘルス制度の脆弱性に対応し、医薬品及び医療機器の規制を大幅に変更する法律となっている[397]。

[392] https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4486714/
[393] http://www.nti.org/gsn/article/budget-strips-more-than-600-million-from-bioshield-program/
[394] Office of Emergency Management, Office of Acquisition Management Contracts & Grants (AMCG), Office of Policy and Planning (OPP), Office of Financial Planning and Analysis (OFPA), Chief Operating Officer (COO)と本文中の BARDA が ASPR を構成している。
[395] https://media.wix.com/ugd/495d79_a30b3654e52d4b80a302c2455ec4381f.pdf
[396] http://califesciences.org/white-house-releases-fiscal-year-2017-budget-request/
[397] https://www.nytimes.com/2016/12/07/us/politics/21st-century-cures-act-senate.html
https://www.washingtonpost.com/news/powerpost/wp/2016/12/07/congress-passes-21st-century-cures-act-boosting-research-and-easing-drug-approvals/?utm_term=.cbdf913487fb
http://www.foxnews.com/opinion/2016/12/07/dr-kevin-campbell-cures-act-could-speed-up-fda-approvals-will-still-be-safe.html

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

21 世紀治療法の主要な目玉の 1 つに、生物医学研究への資金投入がある。具体的には、以下図表に示した NIH プログラムに対して合計 47 億 9,600 万ドルを投入するものとなっている[398]。

図表 56: 21 世紀治療法プログラム別助成額

プログラム名	助成額
①脳神経技術イノベーションの進展による脳研究イニシアチブ（Brain Research Through Advancing Innovative Neurotechnologies Initiative、通称ブレインイニシアチブ）	15 億 1,100 万ドル (2017 年 - 2026 年)
②プレシジョン医療イニシアチブ（Precision Medicine Initiative）	14 億 5,500 万ドル （2017 年 - 2026 年）
③キャンサームーンショット（Cancer Moonshot）	18 億ドル （2017 年 - 2023 年）
④成人の幹細胞を用いた再生医療の臨床研究	3,000 万ドル （2017 年 - 2020 年）

出典：複数の資料を基にワシントンコア作成

中でも助成額の大きい①ブレインイニシアチブ、②プレシジョン医療イニシアチブ、③キャンサームーンショットの概要を以下にまとめる。

A. ブレインイニシアチブ（Brain Research Through Advancing Innovative Neurotechnologies "BRAIN" Initiative）

ブレインイニシアチブは省庁横断プログラムであり、神経回路の機能を理解し、活動中の脳の動的画像を捉え、各部位が相互にどのように作用しているかをリアルタイムで観察するための新しいツールと技術を開発することを目的としている。ヒューマン・ゲノム・プロジェクト[399]と比較されることもある野心的なプロジェクトで、完了すれば、脳の機能不全の治療や予防について大きな知見をもたらすことが期待されている。また、脳がどのようにして、人体が有する膨大情報を記憶、加工、利用、保管、検索するかについての研究も促進していく[400]。ブレインイニシアチブは 2013 年にオバマ前米大統領が発表した取組みである[401]。

B. プレシジョン医療イニシアチブ（Precision Medicine Initiative）

プレシジョン医療イニシアチブは、2015 年にオバマ前米大統領が発表したイニシアチブで、患者、研究者、医療関係者が手を携えて個別化医療の発展に向かうことができるように、研究・技術・政策を通し新たな医療の時代を築くことを目指している。プレシジョン医療（Precision Medicine）とは、個人の遺伝子、環境、ライフスタイルの違いを考慮に入れた、病気の予防と治療への革新的なアプローチであり、臨床医が、患者の

[398] https://www.congress.gov/bill/114th-congress/house-bill/34/text#toc-H10C293A6FBBA410FB4BC6A9F339E7F48
https://rules.house.gov/sites/republicans.rules.house.gov/files/114/PDF/114-SAHR34-Sxs.pdf
https://energycommerce.house.gov/sites/republicans.energycommerce.house.gov/files/documents/114/analysis/20161128%20Cures%20Fact%20Sheet.pdf
[399] 人間の全ての遺伝子の配列を理解しようという国際的な研究努力。2003 年に完了した。
https://www.genome.gov/10001772/all-about-the--human-genome-project-hgp/
[400] https://www.nih.gov/news-events/news-releases/nih-nearly-doubles-investment-brain-initiative-research
[401] http://www.kavlifoundation.org/about-brain-initiative

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

健康、疾患、体調に内在する複雑なメカニズムをより良く理解し、最も効果的な治療を実施するためのツールを提供するものとされている[402]。本イニシアチブは、医学的研究データの収集と共有に焦点を当てている。2016 年度予算から 2 億 1,500 万ドルが計上されている。21 世紀治療法によって今後 10 年間の予算が確保されたことで、更なる進展が期待される[403]。2016 年度予算で実施されているイニシアチブによる主要プログラムは以下の通り。

C. NIH によるプレシジョン医療イニシアチブ・コホートプログラム（Precision Medicine Initiative Cohort Program）

通称「All of Us」としても知られるプログラムで、プレシジョン医療を全ての疾患に適用することを目指す長期的な試みの一環として、少なくとも 100 万人の米国のボランティアからデータを集めることを目指している[404]。2016 年度には、このプログラムに 1 億 3,000 万ドルが配分された[405]。

NIH 傘下 NCI による国家癌知識システム（National Cancer Knowledge System」の作成

精密な癌治療の研究に焦点を当て、臨床試験の拡大、癌患者における薬剤耐性研究、新たな前臨床モデルの開発、研究者間でのデータ交換を促進させる[406]。この取り組みは、癌の治療向上への歩みを倍速化させることを目的とし、後述の Cancer Moonshot にも関連している[407]。2016 年度には、この取組みに 7,000 万ドルが配分された[408]。

FDA による次世代ゲノムシーケンシング技術の評価のための新たな規制アプローチの策定

FDA は、2015 年 12 月に PrecisionFDA と呼ばれるクラウドベースのプラットフォームを立ち上げている。これは、ゲノム研究関係者が次世代シークエンシング（Next Generation Sequencing: NGS）技術によって集積された膨大なゲノムデータを様々な手法で加工するためにテスト、検証、現存若しくは新しいバイオインフォーマティクスの手法を試すための研究開発ポータルである[409]。NGS はコンピュータプログラムを使いヒトゲノムを超高速でシーケンスするもので、2016 年の時点では 1 年間に数千から数万回のゲノムデータ解析が可能となっており、技術革新は遺伝病の研究者にとって非常に重要な課題となっている[410]。2016 年度には、この取組みに 1,000 万ドルが配分された[411]。

---

402 https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative
403 https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative
404 https://www.nih.gov/research-training/allofus-research-program
405 https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative
406 https://obamawhitehouse.archives.gov/precision-medicine
407 http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMp1615745
408 https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative
409 https://precision.fda.gov/about
410 http://www.illumina.com/content/dam/illumina-marketing/documents/products/illumina_sequencing_introduction.pdf
411 https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

HHS の全米医療 IT 調整局（Office of the National Coordinator for Health Information Technology: ONC）による医療 IT イニシアチブ

研究用の医療 IT の相互運用をサポートする標準版の試作やテストに関する革新的な提携の機会を加速させ、プライバシーと安全性を支援するための政策および標準の採用を奨励し、患者によるデータ提供へと繋がる参加者主体のアプローチを支援する標準へと前進させることを目的とする[412]。2016 年度には、この取組みに 500 万ドルが配分された[413]。

更に、連邦政府は、プレシジョン医療におけるプライバシー原則のガイドラインを発表している。この原則ではガバナンス、透明性、研究参加者への権限付与、参加者の志向の尊重、データの共有・アクセス・利用、データの質と完全性に関する今後のプレシジョン医療イニシアチブの活動のため、幅広いガイダンスを提供している[414]。

D. キャンサームーンショット（Cancer Moonshot）

月探査ロケットの打ち上げを意味するムーンショット（moonshot）を名称に含む通り、キャンサームーンショットは、癌治療法への壮大な挑戦に政府資金を充てることを目的に設立された。2016 年 1 月の一般教書演説で、オバマ前米大統領は 2015 年に息子を脳腫瘍で亡くしたバイデン上院議員（元副大統領）に同プログラムの総監督を務めるように指名した[415]。設立当初は 10 億ドルの予算が充てられたが、この予算金額が十分ではないという研究者の意見などもあり、プログラムの促進のため、21 世紀治療法で更なる予算が充当されている。このような経緯もあり、このプログラムはバイデン副大統領の「置き土産」とも称されている[416]。

21 世紀治療法は、NIH を通した研究投資のほかに、米国で深刻化している鎮痛薬オピオイド乱用に対する予防や治療といった州政府の取組みに対して、2 年間で合計 10 億ドルの資金を提供している。更に、同法は、食品医薬品局（Food and Drug Administration: FDA）に対して、既存の安全性及び有効性の基準を維持しながらも医薬品及び医療機器の承認を迅速化することを定めており、そのための予算として今後 10 年間で 5 億ドルを割り当てている[417]。

FDA の医薬品、医療機器の承認プロセスに関しては、製薬会社や関連団体など、1,455 機関という最大規模のロビー活動が展開された背景がある。FDA は、21 世紀治療法の成立以前から承認プロセスを早めるために取り組んできたものの、有効性のみならず使用後の生活への影響などの安全性を担保するための検証には時間がかかるため、承認を早めることによる安全性への懸念や効能について不安が残されて

[412] https://www.whitehouse.gov/precision-medicine
[413] https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative
[414] https://obamawhitehouse.archives.gov/precision-medicine
[415] https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2016/01/12/remarks-president-barack-obama-%E2%80%93-prepared-delivery-state-union-address
[416] https://www.theatlantic.com/politics/archive/2016/02/biden-cancer-moonshot-duke/462288/; http://www.politico.com/story/2016/12/joe-biden-cancer-moonshot-bill-232342
[417] https://rules.house.gov/sites/republicans.rules.house.gov/files/114/PDF/114-SAHR34-Sxs.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

いる。ワシントン D.C.に拠点を置くヘルスケア・シンクタンクの全米ヘルス研究所（National Center for Health Research）によると、2008 年から 2012 年の間に早期承認された 36 の癌治療薬のうち、18 の治療薬について患者の延命効果をもたらさないことが判明しているという。そのため、21 世紀治療法によって承認プロセスが加速化することで、安全性のみならず効果の出ない治療薬が多く市場に出回ることが懸念されている[418]。一方、同法は FDA が 2012 年から取り組んできた医薬品開発ツール認定プログラム（Drug Development Tools Qualification Program）を引き続き押し進めていくとしている。これは、新しいバイオマーカーや臨床結果の評価、患者による治療結果報告、モデル動物といった、医薬品開発を迅速に進めるためのツールの認定をスムーズに行うプログラムである[419]。

21 世紀治療法への反応をみると、米国においてライフサイエンス研究の資金調達が増々難しくなってきている状況で同法を支持する声は大きい。ライフサイエンス研究は政府の資金に頼る部分が大きく、複数年度で固定された NIH、FDA への予算は研究者にとって歓迎すべきニュースとなっている[420]。

一方で、21 世紀治療法で発生する新たな支出の財源をめぐり一部批判の声があがっている。この財源には、戦略的石油備蓄（Strategic Petroleum Reserve）の石油売却による利益および、Affordable Care Act が創設した予防・公衆衛生ファンド（Prevention and Public Health Fund）から流用した資金が充当されることになっている[421]。しかしながら、予防・公衆衛生ファンドはコミュニティ及び臨床的予防イニシアチブ、調査・監督および追跡、公衆衛生インフラ、予防接種およびスクリーニング、たばこ予防、公衆衛生における人材とトレーニングといった活動に資金提供すものであり[422]、21 世紀治療法により同ファンドの重要なサービスから予算を減らすべきではないとの意見があった[423]。

[418] http://www.npr.org/sections/health-shots/2016/11/29/503759592/congress-poised-to-pass-sweeping-law-covering-fda-and-nih
[419] http://raps.org/Regulatory-Focus/News/2016/11/28/26242/Regulatory-Explainer-21st-Century-Cures-Redux-and-What-it-Will-Mean-for-FDA/
[420] http://federal-budget.insidegov.com/l/120/2017-Estimate
[421] https://energycommerce.house.gov/news-center/fact-sheets/hr-6-21st-century-cures-act-frequently-asked-questions
[422] https://www.hhs.gov/open/prevention/
[423] http://www.latimes.com/business/hiltzik/la-fi-hiltzik-21st-century-20161205-story.html

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

6　医療改革制度の影響

本章では、2010 年に成立した「患者保護並びに医療費負担適正化法（Patient Protection and Affordable Care Act：ACA）」による米国医療保険制度改革がバイオ産業に与える影響をまとめる。

6.1　バイオシミラー承認

ACA の一部である「バイオ医薬品価格競争・イノベーション法（Biologics Price Competition and Innovation Act: BPCIA）」では、オリジナルのバイオ医薬品と類似した後続品（バイオシミラー）に対する略式承認プロセスの設置を食品医薬品局（Food and Drug Administration: FDA）に義務付けている[424]。この背景には、バイオ医薬品が高額であるため、バイオシミラーの実現化を急ぎたいという考えがある。以下図表は、最も高価な医薬品のランキングであるが、例えば最も高い Glybera で年間 120 万ドルかかる[425]。

図表 57：最も高価な医薬品ランキング

医薬品名	用途	メーカー	価格（1 年間）
1. Glybera	リポ蛋白質リパーゼ欠損症（LPLD）	uniQure	120 万ドル
2. Soliris	発作性夜間血色素尿症	Alexion	44 万ドル
3. Elaprase	ハンター症候群	Shire	37 万 5,000 ドル
4. Naglazyme	マロトー・ラミー症候群	BioMarin Pharmaceutical	36 万 5,000 ドル
5. Cinryze	糖尿病	ViroPharma	35 万ドル
6. Folotyn	非ホジキンリンパ腫	Allos Therapeutics	32 万ドル
7. Acthar	多発性硬化症	Mallinckrodt Pharmaceuticals	20 万ドル
8. Myozyme	ポンペ病	Sanofi（当該製品を開発した Genzyme 社を 2011 年に買収）	10 万ドル～30 万ドル

出典：The Balance[426]

化学物質によって構成される一般医薬品とは異なり、バイオ医薬品は生物細胞に由来するものであり、分子よりも大きく複雑な構造となっている。そのため、バイオ医薬品を量産することは困難で、研究開発には多額の投資と時間を必要となるため市場価格も高額となる。例えば、関節炎やクローン病のような自己免疫疾患の治療薬である Abbvie 社[427]の Humira による治療費用は年間 2 万ドルにものぼる[428]。バイオシミラーの略式承認プロセスが開始されることで、低分子医薬品に対するジェネリック医薬品と同様、開発及び承認期間の短いバイオシミラーが普及し、バイオ医薬品に価格競争がもたらされることが期待されている

[424] http://stlr.org/2015/03/31/interpreting-the-bpcia-is-the-patent-dance-mandatory/
[425] https://www.thebalance.com/the-8-most-expensive-prescription-drugs-in-the-world-2663232
[426] 同上
[427] 2013 年に設立されたイリノイ州のシカゴ北部に拠点を置く製薬会社。従業員数は 28,000 人で 170 か国に渡り同社の薬が提供されている。2016 年 9 月にバイオシミラーである Amjevita が FDA で承認された。
http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm522243.htm
[428] http://articles.chicagotribune.com/2011-05-24/business/ct-biz-0525-humira-biogenerics-20110524_1_way-for-genetic-engineering-biotech-drugs-abbott-s-humira

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

[429]。また、「代替可能（interchangeable）」と呼ばれるバイオシミラーとは異なる分類も設定されており、医師がオリジナルのバイオ医薬品を処方していても、代替可能と見なされた後続医薬品は、医師の許可なしで薬剤師が自身の裁量で代替することが可能となっている[430]。このように、ACA によってバイオシミラーの承認が促進される一方、オリジナルバイオ医薬品の保護も強化されている。ACA には、オリジナルバイオ医薬品に関する臨床データを 12 年間にわたって保護する条項が含まれている[431]。製薬業界団体である米国研究製薬工業協会（Pharmaceutical Research and Manufacturers of America: PhRMA）は、バイオシミラー承認プロセスとデータ保護について、「競合製品の参入を許すと同時に、（オリジナル医薬品メーカーによる）継続的なイノベーション活動へのインセンティブを維持するための適切なバランスが取られている」として保護条項を評価している[432]。

ACA 成立から 2016 年に至るまでに、実際に FDA に承認されたバイオシミラーは、白血球ブースターである Neupogen の後続となる Zarxio、クローン病や関節炎などの治療薬である Remicade の後続となる Inflectra、TNFα阻害薬 Enbrel の後続である Erelzi、前述した Humira の後続品 Amjevita の僅か 4 つに留まっている[433]。この理由として、ACA が成立してから比較的年数が浅いことや、FDA によるバイオシミラー承認の規則発行に時間がかかったこと、バイオ医薬品の収益性が高いことから FDA 承認を受けたバイオシミラーに対しても訴訟が起こりうることが主要な要因として指摘されている[434]。

図表 58：FDA 承認されたバイオシミラー（2015 年、2016 年）

FDA 承認日	オリジナル	バイオシミラー	効能
2015 年 3 月 6 日	Neupogen Amgen 社	Zarxio Sandoz 社	白血球ブースター
2016 年 4 月 5 日	Remicade Janssen Biotech 社	Inflectra Celltrion 社	クローン病や関節炎などの治療薬
2016 年 8 月 30 日	Enbrel Amgen 社	Erelzi Sandoz 社	TNFα阻害薬
2016 年 9 月 23 日	Humira AbbVie 社	Amjevita Amgen 社	関節炎やクローン病のような自己免疫疾患の治療薬

出典：様々な資料を基にワシントンコア作成

429 http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/HowDrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/TherapeuticBiologicApplications/Biosimilars/

430 http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/HowDrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/TherapeuticBiologicApplications/Biosimilars/

431 http://fortune.com/2016/06/27/priced-act-exclusivity-biopharma/

432 http://www.phrma.org/fact-sheet/data-exclusivity-for-biologics

433 http://www.nytimes.com/2016/07/16/business/makers-of-humira-and-enbrel-using-new-drug-patents-to-delay-generic-versions.html; http://www.raps.org/Regulatory-Focus/News/2016/08/30/25739/FDA-Approves-Third-Biosimilar-in-US-First-for-Amgens-Blockbuster-Enbrel/
http://www.nytimes.com/2016/07/16/business/makers-of-humira-and-enbrel-using-new-drug-patents-to-delay-generic-versions.html
http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm494227.htm

434 http://www.law360.com/articles/789086/what-s-the-big-deal-about-us-biosimilar-approval

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

6.1.1 バイオシミラーを巡る特許訴訟

上述のように、ACA 成立後に米国で承認されたバイオシミラー製品が特許訴訟の対象となるケースが増えている。まず、Neupogen を製造する Amgen 社は 2014 年 10 月、Neupogen のバイオシミラーである Zarxio を製造する Sandoz 社を提訴した。Amgen 社の主張は、Sandoz 社が BPCIA で規定されたパテントダンスを順守しなかったというものである[435]。パテントダンスとは、オリジナルバイオ医薬品メーカーとバイオシミラー承認者との間で、侵害の可能性のある特許についての情報をバイオシミラーの販売前に交換するものである[436]。関連特許に関する法的係争を販売前に解決することによって、バイオシミラーメーカー、オリジナルバイオ医薬品メーカー、そして患者や医師などの一般社会に対して、当該バイオシミラーの確実性をもたらすことを狙いとしている[437]。パテントダンスは以下のステップから構成される[438]。

① FDA がバイオシミラー承認申請受領後 20 日以内に、バイオシミラー申請者は、オリジナルバイオ医薬品メーカーに対して、当該申請の内容及び関連する製造情報を、守秘義務を課した上で提供する。
② オリジナルバイオ医薬品メーカーは、上記情報受領後 60 日以内に、バイオシミラー申請者に以下の情報を提供する。
③ 侵害されていると見なす特許のリスト
④ 上記特許のうち、バイオシミラー申請者にライセンス付与が可能であるもの
⑤ バイオシミラー申請者は、上記特許情報受領後 60 日以内にこれらの特許が無効である、権利行使不可能である、あるいは侵害されていないことを示す事実上及び法律上の根拠を、オリジナルバイオ医薬品メーカーに提供する。同期間中、バイオシミラー申請者は同社の特許で侵害されたと見なすものを提示して反論することも可能である。
⑥ オリジナル医薬品メーカーは、上記情報受領後 60 日以内に主張する個々の特許について、当該特許が侵害されている事実上及び法律上の根拠、そして特許の妥当性や権利行使性についての回答を提供する。
⑦ 両者はその後、最大 15 日間にわたって誠実に交渉を実施し、侵害訴訟の対象となる特許リストについて合意する。
⑧ 合意形成後、30 日以内にオリジナル医薬品メーカーは訴訟を起こす。
⑨ 合意形成に至らなかった場合、バイオシミラー申請者は 2 回目のリストの特許件数を提示し、その後 5 日以内に相互が侵害訴訟の対象となると見なす特許のリストを交換する。リスト交換後、30 日以内にオリジナル医薬品メーカーがリストに含まれる全ての特許について訴訟を起こす。

[435] http://www.cafc.uscourts.gov/sites/default/files/s15-1499.pdf
[436] http://stlr.org/2015/03/31/interpreting-the-bpcia-is-the-patent-dance-mandatory/
[437] http://www.lifesciencesipreview.com/article/solving-the-mystery-of-the-patent-dance
[438] https://jenner.com/system/assets/publications/13837/original/The_Biosimilar_Regulatory_Pathway_and_the_Patent_Dance.pdf?1420753075

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 59: BPCIA 訴訟一覧

オリジナル	原告	被告	バイオシミラー	FDA 承認
Neupogen	Amgen 社	Sandoz 社	Zarxio	2015 年 3 月 6 日
	Amgen 社	Apotex 社	Grastofil	未承認
Neulasta	Amgen 社	Sandoz 社	LA－EP2006	未承認
	Amgen 社	Apotex 社	Pegfilgrastim	未承認
Remicade	Janssen Biotech 社	Celltrion 社	Inflectra	2016 年 4 月 5 日
Epogen	Amgen 社	Hospira 社	Retacrit	未承認
Enbrel	Amgen 社	Sandoz 社	Erelzi	2016 年 8 月 30 日
Humira	AbbVie 社	Amgen 社	Amjevita	2016 年 9 月 23 日

出典:Goodwin の資料を基にワシントンコア作成[439]

上図表はバイオシミラーにまつわる訴訟の一覧で、当事者や FDA 承認日を示している。最初の訴訟は Zarxio をめぐるもので、Sandoz 社はパテントダンスを実施しないことを選択し、オリジナルバイオ医薬品を開発した Amgen 社に対してバイオシミラー申請や関連製造情報を提供しなかった。これを受けて Amgen 社が Sandoz 社を提訴したが、カリフォルニア州地裁、連邦控訴裁判所ともに Sandoz 社にはパテントダンスを実施しないことを選択する権利があるとの判決をくだしている[440]。

Amgen 社は、Neupogen の長期活性化バージョンである Enbrel 及び Neulasta に対する Sandoz 社のバイオシミラーについても訴訟を起こしている。この訴訟において、Amgen 社は、Sandoz 社が BPCIA で規定されたプロセスを順守していないことから、Amgen 社も即時に訴訟を提起する義務はなく、同社の裁量にて損害賠償もしくは差止めを求める訴訟を起こせると主張している[441]。Amgen 社は本件を最高裁判所にまで控訴しており、現在、最高裁での審議日程が待たれているところである[442]。

他方のバイオシミラーについては、Remicade を製造する Janssen Biotech 社が 2015 年 3 月 6 日、Remicade のバイオシミラーとなる Inflectra を製造する Celltrion Healthcare 社を、これらの医薬品を製造するために必要な細胞培養媒体に関する特許侵害で提訴している[443]。マサチューセッツ州にある連邦地方裁判所は 2016 年 9 月に Celltrion Healthcare 社の主張を認める判断を下したが[444]、Janssen Biotech 社は控訴しており、2017 年 2 月に控訴審での審議が開始される予定となっている[445]。

[439] http://www.bigmoleculewatch.com/2016/11/23/bpcia-litigation-roundup-fall-2016/
[440] http://www.cafc.uscourts.gov/sites/default/files/s15-1499.pdf
[441] https://www.biologicsblog.com/amgen-v-sandoz-biosimilar-litigation-update-sandoz-follows-the-patent-dance-with-neulasta/
[442] http://www.scotusblog.com/case-files/cases/amgen-inc-v-sandoz-inc/
[443] http://www.bigmoleculewatch.com/wp-content/uploads/2015/06/12_Janssen_v_Celltrion_Complaint_2015_3_6.pdf http://www.bigmoleculewatch.com/wp-content/uploads/2016/06/DMASS-Complaint.pdf
[444] http://www.bigmoleculewatch.com/2016/09/27/district-court-enters-partial-final-judgment-in-favor-of-celltrion/
[445] http://www.bigmoleculewatch.com/2016/10/17/janssen-v-celltrion-district-court-schedules-hearing-on-motion-to-dismiss/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

6.2 治療発見プロジェクトプログラム

ACA では、医療研究開発への資金を提供する新たなプログラムとして、治療発見プロジェクトプログラム（Therapeutic Discovery Project Program: TDPP）を設置している。TDPP は、以下に記載した項目に適応する新たな治療法を提案した研究プロジェクトに対して、合計 10 億ドルの助成金と税控除を付与する仕組みである[446]。助成額は、資金付与資格が認められた研究費用の 50%を対象としており、1 機関あたりの上限額は 500 万ドルとなっている。また TDPP の支援対象は、従業員数 250 名以下の中小企業に限定される[447]。

- 治療が確立されていない疾病分野を治療し、慢性及び急性疾患を予防・発見・治療する。
- 長期的に米国における医療費を削減する。
- 今後 30 年間での癌完治という目標に大きく貢献する。

2010 年には、47 州にわたり 2,923 社が資金提供を受けている。プロジェクト 1 件当たりの平均受給額は 22 万ドル弱で、プロジェクト参加機関の 78%が上限額を受給している[448]。これまでに TDPP の資金援助を受けた企業には以下の企業がある[449]。

- **TecMed 社**：ワイオミング州及びニューメキシコ州を拠点とし、より正確な血糖値モニター技術の開発に取り組む。TDPP の助成金は、手術ユニットに取り入れる特許取得済み技術の実用化に活用[450]。
- **Enzon Pharmaceuticals 社**：120 万ドルの助成金を、PEG-SN38、HIF-1α 用 mRNA 拮抗薬、スルビビン（Survivin）、アンドロゲン受容器（Androgen Receptor）、HER3 の 5 種の癌治療薬の開発に投入。うち 4 種は市場で販売されている[451]。
- **Cerus 社**：カリフォルニア州コンコードを拠点に、輸血の安全性に取り組む。同社の血小板及び赤血球に対するインターセプト血液システム（INTERCEPT Blood System）の開発支援として、総額 48 万 9,000 ドルの助成金を 2 回にわたり受給した。
- **Edimer Pharmaceuticals 社**：マサチューセッツ州ケンブリッジを拠点に 2009 年に創設されたバイオ企業で、稀な遺伝子疾患である伴性劣性無汗性外胚葉形成異常症（X-linked Hypohidrotic Ectodermal Dysplasia: XLHED）の治療開発に取り組む。開発障害を恒久的に治癒する新規の分子分類となる EDA 置換プロテインである EDI200 の開発に助成金が付与された。

[446] https://grants.nih.gov/grants/funding/QTDP_PIM/
[447] https://www.irs.gov/uac/irs-begins-accepting-applications-for-qualifying-therapeutic-discovery-project-program
[448] https://www.bio.org/articles/therapeutic-discovery-project-quick-facts
[449] 同上
[450] http://www.tecmed.com/history.html
http://www.tecmed.com/uploads/QTDP_Press_Release_2014.pdf
[451] http://enzon.com/docs/about_overview

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

バイオテクノロジーイノベーション協会（Biotechnology Industry Organization: BIO）によると、資金援助を受けた企業は、平均 6 名の新規雇用を創出し、7 名の既存雇用を維持している。また、5 社のうち 4 社の CEO は、助成金が自社の存続に必須であったとしている[452]。

6.3 医療保険加入義務の影響

ACA の医療保険加入義務により、2014 年以降、ほぼ全ての米国民は、医療保険に加入するか、保険に加入しない場合、罰金を払わなければならない。この義務は、ACA における最大の争点の 1 つでもあり、最高裁でも争われたが、議会は個人による保険プランの購入を強制できない一方、加入していない個人に罰金、実質的には税金を課すことは可能であるとの判断がくだされた[453]。2016 年の罰金は以下のうち高額のものと定められている。

- 世帯所得の 2.5%。ただし、マーケットプレースを通して加入したブロンズプラン保険の全米保険料平均を上限とする。
- 成人 1 人 695ドル及び子ども（18 歳未満）1 人 347.5ドルで、上限は 2,085ドル。

保険料支払能力がない場合や、メディケイド（Medicaid）拡充が適用されない州において Medicaid の加入資格を得られなかった場合、そして、宗教もしくは信条的な免責を申請した非営利団体（501(c)3）のメンバーやネイティブインディアン、囚人などは罰金から免除される。

加入義務の効果も議論の対象となっている。RAND による調査結果では、加入義務を廃止することで個人用医療保険市場は 20%縮小し、特に青年を対象とした保険市場は 30%近く低下した結果、保険加入を続けるのは高齢者及び健康に問題のある個人のみになると予測されている。また、加入義務が無くなった場合、加入者数は 800 万人（3%）減少し、保険料は 7%（約 300 ドル）上昇するとも推定されている。RAND は、加入義務廃止による保険料上昇への影響は小規模であるが、多くの加入者を失うことになると結論付けている。また、保険料への影響が小規模であるのは政府による補助金によるもので、保険料への影響が少ないことから加入義務が廃止されても個人用医療保険市場は安定すると予測している[454]。RAND による別の調査によると、補助金を廃止した場合、保険料は 43%上昇し、個人加入者数は 1,350 万人減少することになり、1,100 万人の米国民が医療保険を失うことになると試算している[455]。

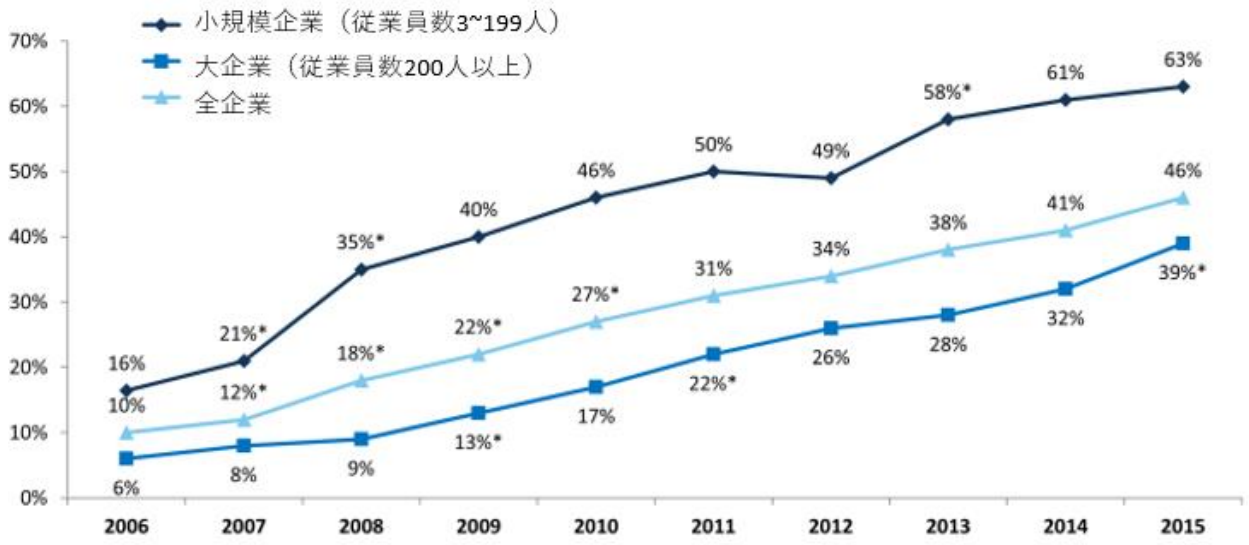
保険加入義務によって、米国における保険加入者数の規模が 3,000 万人と大きく増えることが予測されることから、医療サービスの利用数も増えると期待されている。雇用主から医療保険を提供されることが一般的な米国において、雇用主は従業員の医療保険加入の責任を問われ、条件を満たしていない場合にはペナルティを支払うことになる。そのような雇用主提供型の医療保険が一般的な米国において、以下図表

[452] https://www.bio.org/articles/therapeutic-discovery-project-quick-facts
[453] http://apps.americanbar.org/litigation/committees/health/articles/summerfall2012-1012-affordable-care-act-impact-life-sciences-part-2.html
[454] http://www.rand.org/pubs/research_briefs/RB9812z4.html
[455] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

の通り被保険者が ACA 成立後増加していることがわかる。このように医療保険加入者が増えた結果として、医薬品の販売が伸び、医薬品の価格も高額に設定しやすくなることから、医薬品分野のイノベーションへの投資も増えると推測されている。グローバルデータ（GlobalData）は、2024 年までに ACA によって米国医薬品業界へ 350 億ドルの収益及び 33%の売上増がもたらされると予測している[456]。

図表 60: 雇用主提供による医療保険の被保険者の割合推移（2006 年 - 2015 年）



出典：Kaiser Family Foundation[457]

一方、ACA によって、医療費のリスク負担が診療行為提供者（プロバイダー）へとシフトし、結果として、バイオ医薬品を含め、プロバイダーによる診療行為の選択において診断支援のためのデータが重視されることになるとの見解もある。従って、バイオ医薬品産業にとって、市場販売開始後の臨床データに注目し、自社の医薬品が主張通りの効能を示していることを、コスト効率性と共に実証することが重要となる[458]。

6.4 医療機器税

ACA では、医療機器に対して 2.3%の課税をしている。主に医師などの診療行為提供者（プロバイダー）が使う医療機器で、手術用手袋から義肢まで、米国製機器だけでなく、米国に輸入された機器も課税対象となる。一方、車椅子やコンタクトレンズなど、患者が個人的に使用する為に購入する機器は対象外である[459]。

[456] http://www.forbes.com/sites/brucejapsen/2013/05/25/obamacare-will-bring-drug-industry-35-billion-in-profits/#4b8dc4353b7f
[457] http://kff.org/report-section/ehbs-2015-summary-of-findings/
[458] http://www.pharmtech.com/affordable-care-acts-impact-innovation-biopharma-1
[459] http://apps.americanbar.org/litigation/committees/health/articles/summerfall2012-1012-affordable-care-act-impact-life-sciences-part-2.html
https://www.brookings.edu/opinions/5-questions-about-the-medical-device-tax-and-its-potential-for-repeal/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

医療機器税については、ACA により保険加入者数が増加して医療機器の利用が増えることで、税負担分が相殺されるとの見方がある[460]。一方、医療機器メーカーは、保険加入者数の増加に伴う売上増が期待できる医薬品とは異なり、医療機器の利用者の多くは高齢者であり、既にメディケア（Medicare）が適用されていることから、ACA による医療機器の販売増加は望めず、医療機器税は負担にしかならないと、同税に反対している[461]。

議会調査部（Congressional Research Service: CRS）が 2014 年 12 月に発表した報告書によると、医療機器税が医療機器メーカーに及ぼす影響について、「（医療機器税による）医療機器業界の産出量及び雇用の縮小は 0.2%未満と推定され、医療機器メーカーの利益に悪影響を及ぼす見込みはない」と結論づけている。また、税率が低く、医療費全体における医療機器費用のシェアが小規模であることから、医療費への影響も殆どないと分析している[462]。また、2014 年における医療機器産業の米国内売上額は、医療機器税が施行開始した 2013 年の 3,360 億ドルから 4%増加している。この成長率は 2012 年のものとほぼ同じであり、医療機器税導入後も医療機器産業が財政的に安定していることを示唆している[463]。なお、医療機器税による税収は年間 25 億ドル以下であり、当初の予測を下回っている[464]。

現在、医療機器税が企業利益及び販売を縮小させるとの医療機器メーカーによるロビー活動を受けて、同税は 2016 年度連邦予算によって 2 年間停止されている[465]。トランプ新政権及び共和党主導の議会によって同税が撤廃されるとの見解もあり[466]、今後の行方が注視される。

[460] http://apps.americanbar.org/litigation/committees/health/articles/summerfall2012-1012-affordable-care-act-impact-life-sciences-part-2.html
[461] https://www.brookings.edu/opinions/5-questions-about-the-medical-device-tax-and-its-potential-for-repeal/
[462] https://www.brookings.edu/opinions/5-questions-about-the-medical-device-tax-and-its-potential-for-repeal/
[463] 同上
[464] http://www.reuters.com/article/us-usa-trump-medicaldevice-tax-idUSKBN13Y187
[465] http://www.fiercebiotech.com/medical-devices/updated-medical-device-tax-suspended-1-8t-federal-budget
[466] http://www.reuters.com/article/us-usa-trump-medicaldevice-tax-idUSKBN13Y187

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

7　先端医療の取り組み

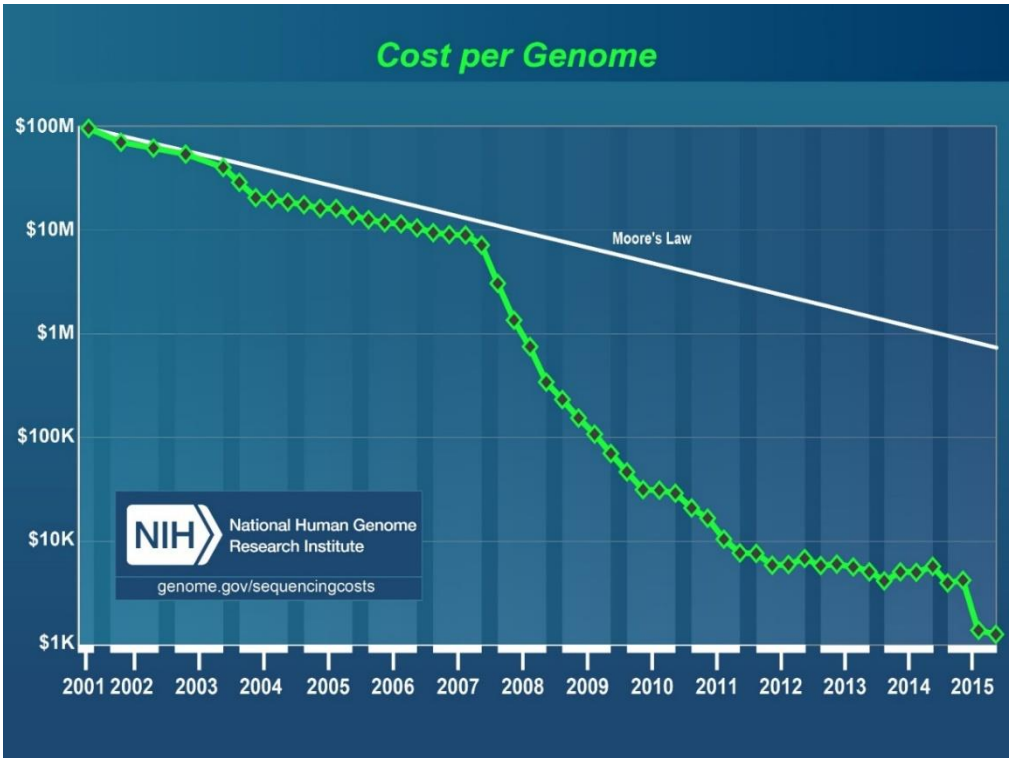
本章では、ゲノム医療、遺伝子治療、再生医療・細胞治療など、先端的な医療・治療に関して、連邦政府の予算、臨床研究・試験の実態、スタートアップ企業の動向など総合的にとりまとめている。

7.1　ゲノム医療

7.1.1　ゲノムシークエンシングコストの低下

遺伝子解析技術の発展とともにゲノムシーケンシングのコストが飛躍的に低下し、ゲノム医療の発展をもたらしている。全ゲノム解析のコストは、2001 年には 1 人当たり 9,526 万ドルだったが、2000 年代半ばに登場した次世代シークエンサーにより費用が大幅に低下した。2015 年時点で 1,363 ドルにまで低下しており、今後 10 年以内にはさらに低下すると予想されている。次世代シークエンサー最大手の Illumina 社の Jay Flatley 会長は 2015 年 12 月のインタビューで、500 ドルでゲノム解析を行うことは技術的には可能であるし、更に低い価格でゲノム解析ができる日も遠くないと答えている[467]。

図表 61：ゲノム解析コストの推移（2001 年 - 2015 年）



出典：National Human Genome Research Institute[468]

[467] http://www.cnbc.com/2015/12/10/unlocking-my-genome-was-it-worth-it.html
[468] https://www.genome.gov/sequencingcosts/

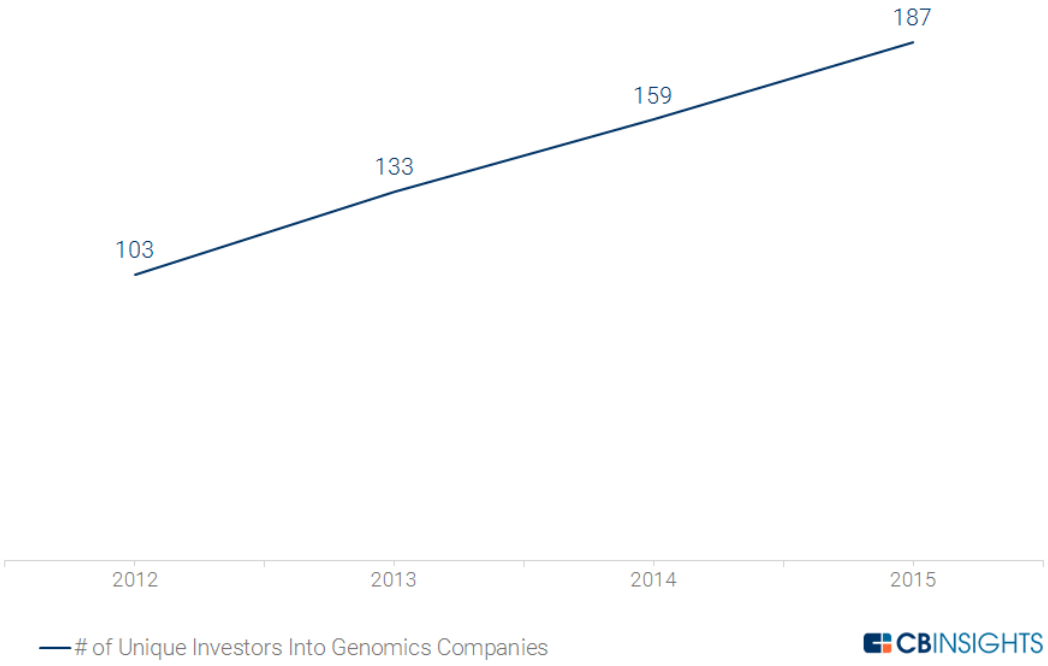
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

7.1.2 遺伝子関連技術ベンチャーへの投資拡大

ゲノム医療への注目が高まる中で、遺伝子関連企業ゲノミクス企業への投資が大きく増えている。ゲノム関連のベンチャー企業に投資する企業の数は、2012 年の 103 社から 2015 年には 187 社へと大幅に増加している。また、多様な機関が投資に参画している。大手病院（医療システム）による遺伝子関連企業の投資も活発である。例えば、ミネソタ州ロチェスターにある世界有数の病院である Mayo Clinic は、ゲノム関連スタートアップの Helix にプライベート・エクイティ投資企業 2 社およびゲノム解析技術企業イルミナと連携して立ち上げた。Helix は、個人向けに遺伝子解析サービスを提供している[469]。

ベンチャーキャピタルや民間企業に加えて、資産管理会社やプライベート・エクイティ企業からの投資も増加しており、2015 年には投資企業の数が 85 社に対し、資産管理会社等の企業が 74 社と肉薄しつつある[470]。

図表 62: 遺伝子関連技術ベンチャーへの投資件数の推移（2012 年 - 2015 年）



出典: CB Insights[471]

遺伝子分野の主な投資家として、ベンチャーキャピタルや医療機器メーカーなどがあり、次世代シークエンサー最大手のイルミナ社の場合、有望とされるゲノム関連ベンチャー（23andMe、Ofxord Nanopore、

[469] http://www.beckershospitalreview.com/healthcare-information-technology/mayo-clinic-partners-with-private-equity-firms-for-genomics-hub.html
[470] https://www.cbinsights.com/blog/genomics-startup-investors/
[471] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

Human Longevity 等）のほぼ全社に投資している。ゲノム関連企業の種類別に見ても、初期ステージの癌を発見するゲノム解析を請け負う Grail 社のような企業から、ゲノム解析を消費者に直販する Helix 社のような企業まで、網羅的に投資を行っている。

図表 63：主な投資家による遺伝子関連ベンチャーへの投資状況（2016 年）

投資家	投資先企業	
Y Combinator	• Loop Genomics • TL Biolabs • Benching • One CodeX	• Perlsentin Lab • Verge Genomics • Cofactor Genomics
Illumina	• Grail • Kallyope • 23andMe	• Oxford Nanopore • Human Longevity
Sequoia Capital	• Natera • Cambridge Epigenetix • Lifecode	• Assurex Health • Guardant Health
Roche Venture Fund	• Horizon Discovery • Stratos • Epic Sciences	• Omicia • Foundation Medicine
AECH Venture Partners	• Grail • Wuxi NextCode • AgBiome	• Boreal Genomics • Arivale
Google Ventures	• Grail • Cambridge Epigenetix • 23andMe	• DNAnexus • Foundation Medicine
Lightspeed Ventrure Pa	• Natera • Karius • Personalis	• Real Time Genomics • Guardant Health
Polaris Partners	• Kallyope • Kindex Pharmaceuticals • AgBiome	• Arivale • Wuxi NextCode
Indie Bio	• Girihlet • mFluiDx • Genesis DNA	• Genome Surveillance • Helixworks

出典：CB Insights[472]の資料を基にワシントンコア作成

[472] https://www.cbinsights.com/blog/genomics-startup-investors/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

更に遺伝子医療分野では、多様なパートナーシップが形成されていることが特徴的である[473]。遺伝子企業、テクノロジー企業、医薬品企業、NIH、医療機関などがそれぞれパートナーシップを組むことで、様々なソリューションが追求されている。具体的な例としては、個人ゲノム解析会社である 23andMe 社と Apple 社が提携し、遺伝情報と行動データやウェルネスデータの関連性を研究できる体制が構築されている他、コロンビア大学医療センターでは IBM の AI システムである Watson を利用して癌の個別ケアを提供しようとしている。医薬品企業の Astra Zeneca 社では、遺伝子解析企業の Human Longevity 社と 10 年間契約を交わし、新薬開発に遺伝子解析データを利用するという。

7.1.3 遺伝子医療関連サービスの現状と傾向

遺伝子医療は今後、様々な発展を遂げると考えられるが、個人にとって遺伝子医療が適用される分野として①臨床（疾病、健康リスク）、②ウェルネス（日常の健康）、③ライフスタイル（遺伝子情報が個人的な特徴や性格に与える影響）に大別できると考えられると見られている[474]。

図表 64: ゲノム医療適用の拡大例

	臨床	ウェルネス	ライフスタイル
用途	疾患や潜在的な健康リスクに関連する遺伝子変異体、及び、家族計画に関連する臨床情報の提供。	特定のライフスタイルや環境要因への反応に影響を及ぼしうる遺伝子変異体。	個人的な特徴や属性に影響を与えうる遺伝子変異体。
具体例	あなたは乳癌やアルツハイマー病の危険性があるか。あなたが摂取すべき医薬品は何か。あなたは家族を持とうとしているか。	あなたは不眠症か。あなたはサプリメントを摂取すべきか。あなたの遺伝子が食生活にどのような影響を与えるか。	コリアンダー（パクチー）の味が好きか。スプリンター体質ですか。あなたの家系は何か。

出典：Rock Health の記事[475]を基にワシントンコア作成

今後、遺伝子医療がより普及するには①自らの遺伝子情報を企業に提供することに対する抵抗感の改善、②データから得られる情報の有益性の向上の 2 点が重要であると思われる。とりわけ、遺伝子情報の共有については、消費者の間でテクノロジー企業に対する抵抗感が強い。大手ベンチャーキャピタルの Rockhealth 社が遺伝子検査に対する関心について米国成人 1,060 人を対象にアンケートを実施した結果、遺伝子データの取り扱いについて、医師と共有することについては 71%が「共有してもよい」と回答しているのに対し、テクノロジー企業の場合「共有してもよい」と答えたのはわずか 14%であった[476]。また、特定の疾患（例：アルツハイマー病）を対象とする場合の方が、高コレステロールや不眠症といったウェルネスやライフスタイル関連の場合よりも検査を受ける意欲が高い[477]。

[473] https://rockhealth.com/reports/the-genomics-inflection-point-implications-for-healthcare/
[474] https://rockhealth.com/reports/the-genomics-inflection-point-implications-for-healthcare/
[475] 同上
[476] 同上
[477] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

遺伝子検査を経験したことがあると応えた人は 159 人（15%）だった。遺伝子検査を受けたことがない人のうち 92%が「大いに興味がある」または「やや興味がある」と回答しており、その理由として「遺伝子検査に興味がある」が最も多く、次に「先祖を知りたい」「疾病リスクを知りたい」と続いた。現在は、個人と遺伝子情報データ解析企業が直接やりとりする形が主流であるため、多くの消費者が遺伝子情報を共有することに抵抗感を感じている。今後、病院や医師が患者に対して遺伝子検査を受けることを勧めるようになれば、遺伝子情報共有に関する意識も高まり、情報の保護という点でも整備され、疾病リスクについて知るための遺伝子検査の敷居がより低くなるだろう。

7.1.4 米国連邦政府の遺伝子研究への取り組み

米国連邦政府は、NIH を中心に様々な遺伝子に関する研究開発に向けた予算を確保している。遺伝学、ヒトゲノム、遺伝子療法、遺伝子療法臨床試験、遺伝子検査などのカテゴリーで予算が分類されている。

図表 65: NIH 遺伝子研究関連予算（2012 年 - 2017 年）

（単位：100 万ドル）

種類	会計年度 2012	会計年度 2013	会計年度 2014	会計年度 2015	会計年度 2016 (推定)	会計年度 2017 (推定)
遺伝学	7,632	7,144	7,324	7,480	7,826	7,879
ヒトゲノム	2,271	2,473	2,701	2,891	3,025	3,025
遺伝子療法	256	226	253	238	248	250
遺伝療法臨床試験	15	15	26	23	24	24
遺伝子検査	255	272	231	161	167	167

出典： RePORT NIH[478]

2015 年 1 月 20 日、当時のオバマ政権により創設された「プレシジョン医療イニシアチブ（Precision Medicine Initiative: PMI）」の中でも、プレシジョン医療に対する最大の取り組みとして、100 万人以上の集団のデータを基に様々な研究を行う「PMI コホート・プログラム」が始まっている。2015 年 12 月、米国連邦議会は、「PMI コホート・プログラム」に関して NIH に対して 1 億 3,000 万ドルを確保した[479]。「PMI コホート・プログラム」は現在「All of Us」と名称が変更されている[480]。2016 年度には、「PMI コホート・プログラム」に対して NIH から 5,500 万ドルの助成金が付与されている[481]。

「All of Us」は、①データおよびリサーチセンター、②参加者技術センター、③ヘルスケア事業者組織、④バイオバンクの 4 部門で構成される。「All of Us」のディレクターは、Intel 社 Health Research and Innovation Lab での勤務が長く、同社 Digital Health Group の創設メンバーである Eric Dishman 氏であ

[478] https://report.nih.gov/categorical_spending.aspx
[479] https://www.nytimes.com/2016/07/24/us/politics/precision-medicine-initiative-volunteers.html?ref=topics&_r=1
[480] https://www.nih.gov/allofus-research-program/pmi-cohort-program-announces-new-name-all-us-research-program
[481] https://www.nih.gov/news-events/news-releases/nih-awards-55-million-build-million-person-precision-medicine-study

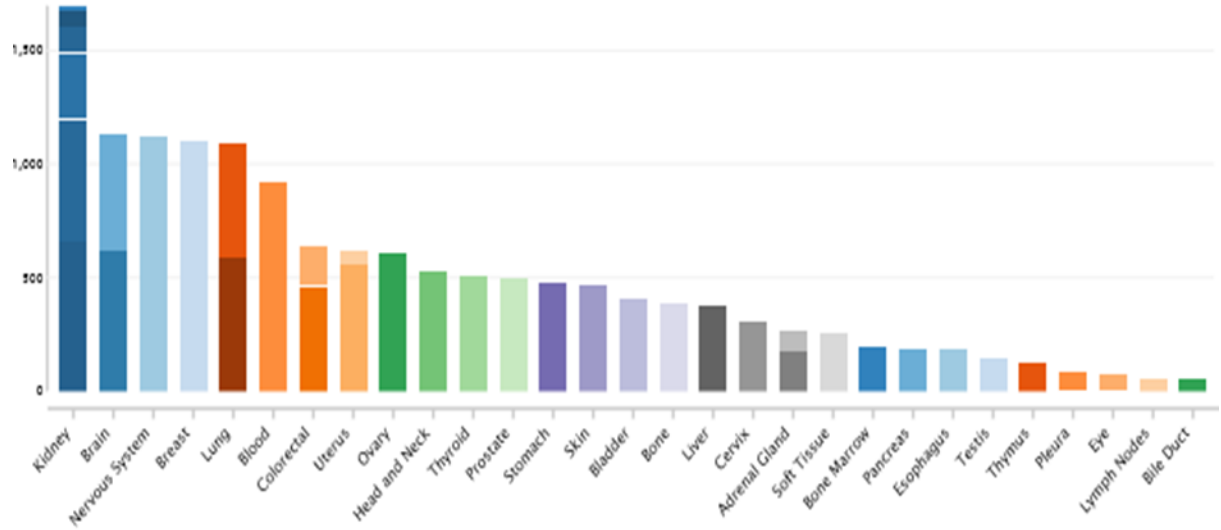
Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

る[482]。2017 年、自らの電子カルテや健康調査情報、ライフスタイル関連情報等を提出することになる参加者の募集が行われている。参加者の多様性を確保するため、低所得者層が多く利用するコミュニティヘルスセンターでも参加者を募っている[483]。「All of Us」では、国家規模のリソースを構築するため、大学、病院、ヘルスケア事業者等に対して助成を行っている[484]。

7.1.5 データベース整備

ゲノム医療の研究に不可欠なデータを共有するためのプラットフォームとデータベースの構築が NIH を中心に進められている。NIH の機関である国立生物工学情報センター（National Center for Biotechnology Information:NCBI）が公的なゲノム情報統合データベースを構築している。NIH は 2016 年 6 月、膨大なデータにアクセスするため、クラウド上のデータベース Genomic Data Commons (GDC)を立ち上げた[485]。2016 年 10 月 31 日のデータによると、GDC には 14,531 件の事例がデータベースに含まれており、この数はどんどん増えていくと予想されている[486]。

図表 66: 次世代癌ナレッジネットワーク[487]による疾患別 GDC データ格納数



出典: U.S. Department of Health and Human Services[488]

[482] https://www.nih.gov/allofus-research-program/eric-dishman
[483] https://www.nytimes.com/2016/07/24/us/politics/precision-medicine-initiative-volunteers.html?ref=topics&_r=0
[484] https://www.nih.gov/research-training/allofus-research-program/funding
[485] https://gdc.cancer.gov/
[486] 同上
[487] 次世代癌ナレッジネットワーク（The Next Generation Cancer Knowledge Network）とは、NIH の国立がん研究センター（National Cancer Institute）内の Genomic Data Commons（GDC） が主導するイニシアチブで、プレシジョン医療を援助するために、癌ゲノミック研究のデータを共有できるように癌に関する研究コミュニティーを提供することを目的としている。
[488] https://gdc.cancer.gov/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

7.2 遺伝子治療

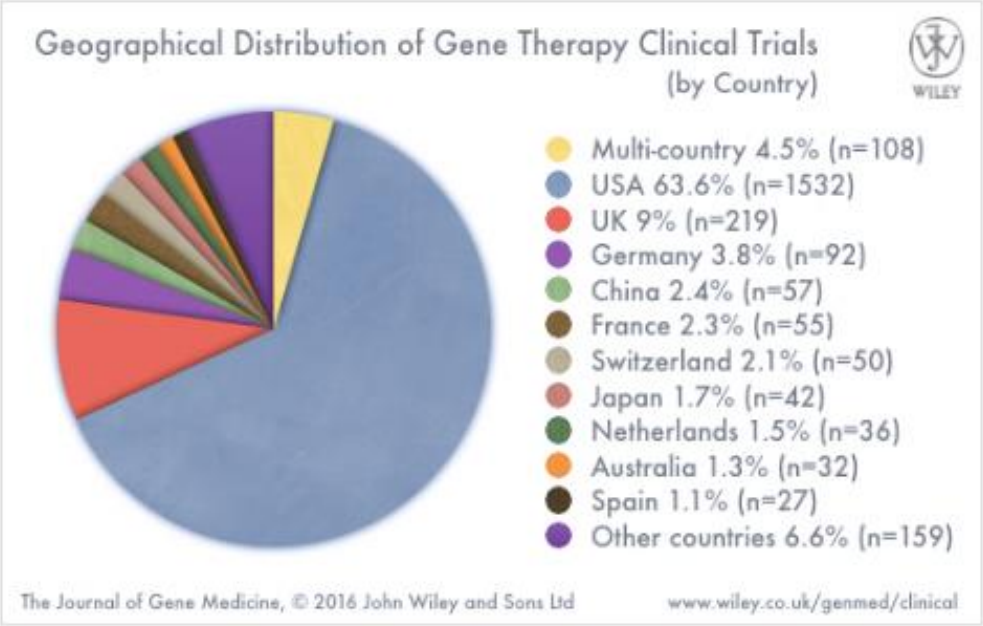
7.2.1 遺伝子治療

NIH によると、遺伝子治療とは、疾病予防や治療に遺伝子を用いる先端的な技術であり、将来的に投薬や手術の代わりに、患者の細胞に遺伝子を注入することで疾患を治療することが期待されている。具体的には、病気の原因となる変異細胞を健康な細胞に置き換えたり、特異的に機能する変異細胞を非活性化させたり、疾病に対する免疫力を高めるために新たな遺伝子を注入するなどの方法が研究されている[489]。

7.2.2 遺伝子治療に関する臨床試験の状況

世界的に遺伝子治療に関する臨床試験が実施されているが、米国が最も大きなシェアを占めている。下記の図表によると、2016 年までに遺伝子治療の臨床試験が行われた 47 カ国・地域のうち、米国が 1,532 件（63.6%）と圧倒的多数を占め、次に英国が 219 件（9%）、ドイツが 92 件（3.8%）と続く。尚、108 件（4.5%）は複数国で行われている。

図表 67: 遺伝子治療の国別臨床試験



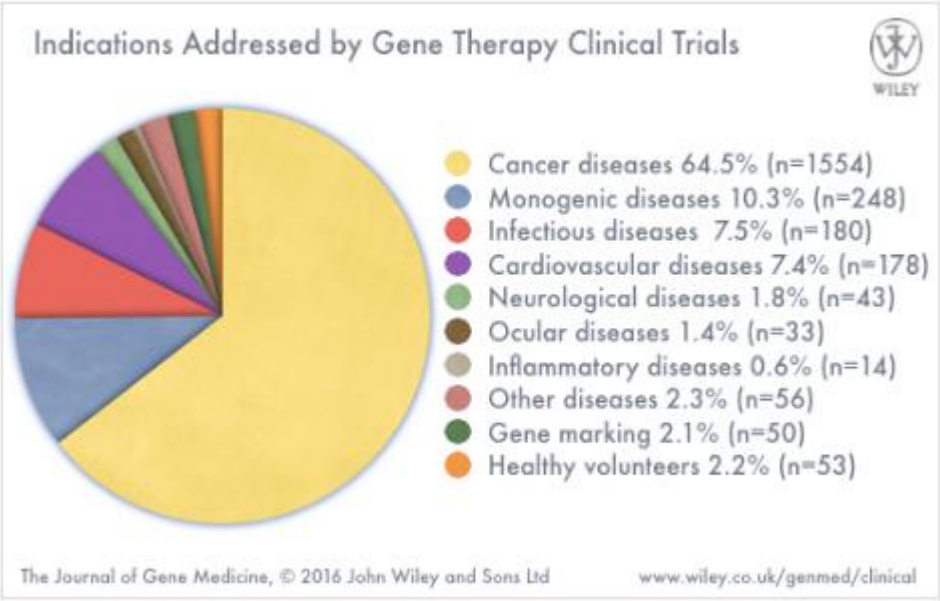
出典: ABEDIA AB[490]

遺伝子治療の臨床試験を対象疾患別にみると、癌が 64.5%と圧倒的多数であり、次に単一遺伝子病（10.3%）、伝染病（7.5%）、心血管（7.4%）と続く。その他の疾病については 3%未満である。

[489] https://ghr.nlm.nih.gov/primer/therapy/genetherapy
[490] http://www.abedia.com/wiley/countries.php

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 68: 疾患別遺伝子治療の臨床試験の割合（2016 年）



出典: ABEDIA AB[491]

遺伝子治療の臨床試験をフェーズ的にみると、フェーズ I が最も多く、フェーズ III まで達している数はまだ少ないことが分かる。

図表 69: 臨床試験フェーズ別　遺伝子治療数内訳

Phase	遺伝子治療臨床試験	
	数	割合（%）
Phase I	1,380	57.3
Phase I/II	490	20.3
Phase II	417	17.3
Phase II/III	23	1
Phase III	91	3.8
Phase IV	3	0.1
Single subject	5	0.2
合計	2,409	100

出典: ABEDIA AB[492]

[491] http://www.abedia.com/wiley/indications.php
[492] http://www.abedia.com/wiley/phases.php

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

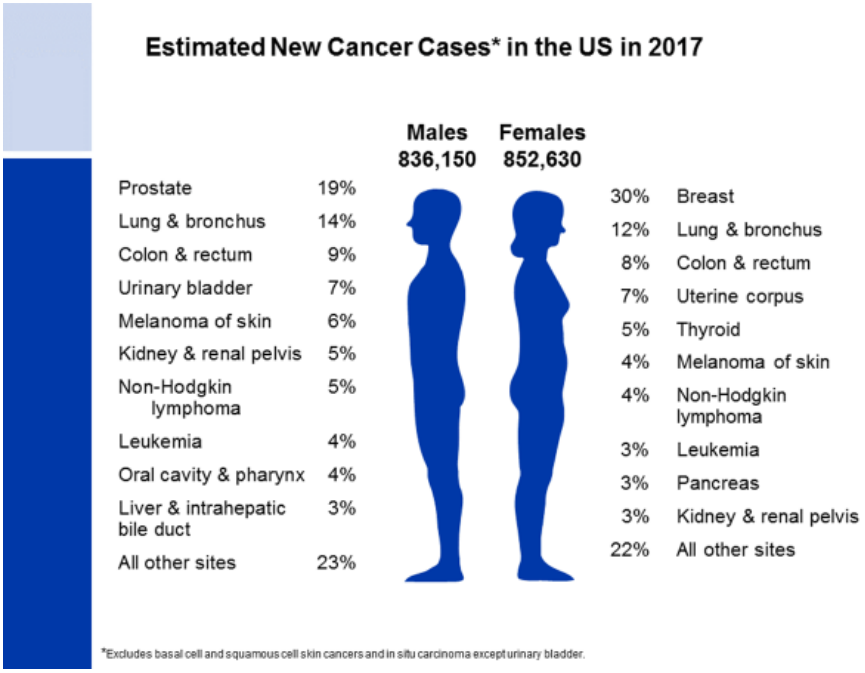
7.3 癌治療

7.3.1 癌の疾病状況

米国において、癌は心疾患に次いで第 2 位の死因となっている。2014 年の統計では、心疾患による死亡者が 61 万 4,348 人、癌が 59 万 1,699 人となっている[493]。下記の図表は、2017 年に予想される癌の新規患者数を癌の種類別に並べたものである。予想される新規患者数は男性 83 万 6,150 人、女性 85 万 2,630 人であるが、男性で最も多いのが前立腺癌（19%）であるのに対し、女性の第 1 位は乳癌（30%）である。男女ともに第 2 位は肺および気管支癌（男性：14%、女性 12%）で、同様に男女とも第 3 位は大腸・直腸癌（男性：9%、女性：8%）となっている。

第 4 位以降は男女で順位が異なる。男性から見ていくと、第 4 位が膀胱癌（7%）、第 5 位がメラノーマ（6%）、第 6 位が腎臓癌（5%）、第 7 位が非ホジキンリンパ腫（5%）、第 8 位が白血病（4%）、第 9 位が口腔・咽頭癌（4%）、第 10 位が肝臓・肝内胆管癌（3%）で、その他が 23%を占める。女性の第 4 位以降は、第 4 位が子宮癌（7%）、第 5 位が甲状腺癌（5%）、第 6 位がメラノーマ（4%）、第 7 位が非ホジキンリンパ腫（4%）、第 8 位が白血病（3%）、第 9 位が膵臓癌（3%）、第 10 位が腎臓癌（3%）でその他が 22%を占める。

図表 70：米国における癌の種類別の推定罹患率（2017 年）



出典：Cancer.org 全米癌協会[494]

[493] https://www.cdc.gov/nchs/fastats/leading-causes-of-death.htm
[494] https://www.cancer.org/content/dam/cancer-org/research/cancer-facts-and-statistics/annual-cancer-facts-and-figures/2017/cancer-statistics-presentation-2017.pptx

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

7.3.2 連邦政府のイニシアチブ「Moonshot イニシアチブ」

オバマ前米大統領は、2016 年の一般教書演説において癌を撲滅するという大きなテーマを掲げ、10 億ドルの予算を付けた大プロジェクト「National Cancer Moonshot」を開始した。この Moonshot イニシアチブでは、NIH の癌関連研究に対して 2016 年度に 1 億 9,500 万ドルを拠出した他、2017 年度予算は 7 億 7,500 万ドルを見積っている[495]。研究対象となる分野として、癌ワクチン開発、癌早期発見、癌免疫療法および併用療法、腫瘍のゲノム解析等が挙げられている。2017 年 2 月時点、トランプ大統領がこのイニシアチブについてどのような判断を下すかは不透明だが、このイニシアチブを主導してきた元副大統領のバイデン氏が引き続きリーダーシップを取り、「Biden Cancer Initiative」との名称の下で非営利団体として活動するのではないかと報じられている[496]。

7.3.3 癌研究に関する連邦予算

米国政府は、NIH を中心に癌研究に取り組んでいる。米国連邦予算を最も受けているのは、乳癌であり、次に肺癌となっている。2014 年度から予算化された小児癌向けの研究費も 3 番目に多い予算額となっている。

図表 71: NIH 癌研究予算（2012 年 – 2017 年推定）

(単位 100 万ドル)

種類	会計年度 2012	会計年度 2013	会計年度 2014	会計年度 2015	会計年度 2016 (推定)	会計年度 2017 (推定)
合計	5621	5274	5392	5389	5652	6332
脳癌	281	280	289	298	310	310
乳癌	800	657	682	674	699	699
子宮頚癌	112	98	116	99	103	106
小児白血病	77	67	105	155	161	167
結腸直腸癌	302	281	271	309	321	331
肝臓癌	73	71	74	85	89	89
肺癌	233	208	254	349	362	362
リンパ腫	213	233	251	270	281	281
卵巣癌	147	133	131	118	123	123
膵臓癌	127	125	123	174	181	181
小児癌*			276	342	355	355
前立腺癌	257	286	254	288	299	299
子宮癌	42	39	57	52	54	54

*会計年度 2014 年までは使用されていないカテゴリー

出典: Report NIH[497]

[495] https://obamawhitehouse.archives.gov/the-press-office/2016/02/01/fact-sheet-investing-national-cancer-moonshot
[496] http://blogs.discovermagazine.com/d-brief/2017/02/02/cancer-moonshot-trump-administration/#.WJQz6HCB3MU
[497] https://report.nih.gov/categorical_spending.aspx

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

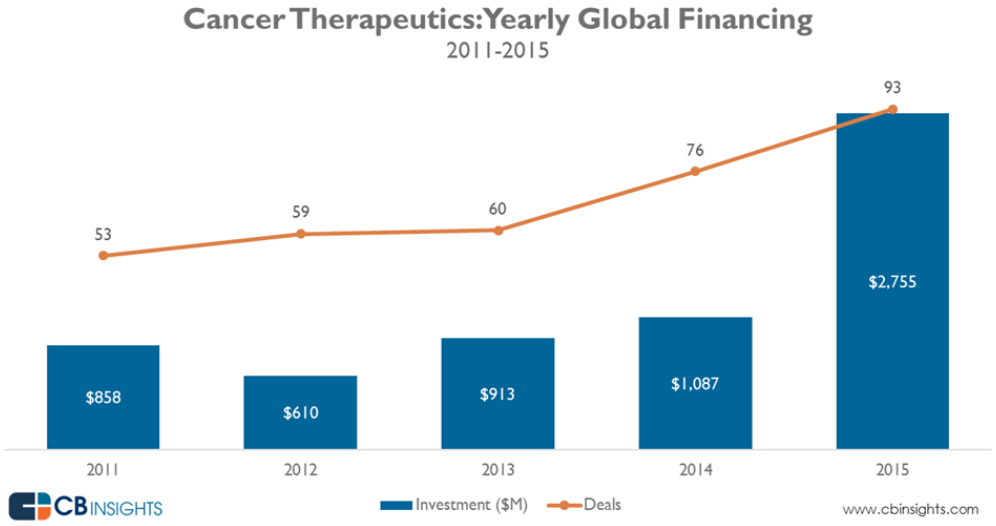
7.3.4 遺伝子編集

最近、最も注目されている遺伝子関連技術として、遺伝子操作技術が挙げられる。その中でも、CRISPR/Cas（以下「クリスパー」）[498]と呼ばれる遺伝子操作技術への注目・期待度は高い。クリスパーは、大腸菌のようなバクテリア（細菌）がもつ高度な免疫機能を、DNA 操作に応用した先端技術で、DNA 上の狙った箇所をピンポイントで切断、改変できる。従来の遺伝子操作技術と比較して、精度とスピードが非常に高度である。クリスパーを医療に応用する試みはまだ初期段階にあり、2016 年 10 月 28 日に中国の医師団が肺癌患者に初めての臨床試験をおこなった。米国チームは 2017 年に臨床試験の実施を予定している他、北京大学チームも膀胱癌、前立腺癌、および腎細胞癌に対する臨床試験を実施する意向を示している[499]。癌治療の他にも、ハンチントン病、マラリア、デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療に役立つと期待されている[500]。クリスパーの技術を使って画期的な新製品を開発しようとする米スタートアップ業界では、Intellia Therapeutics 社、Editas Medicine 社および Crispr Therapeutics 社の三つ巴の戦いとなっており、各社が大手医薬品企業と提携し研究を進めているものと見られる[501]。

7.3.5 癌治療技術へのベンチャーキャピタル投資

癌治療に対する期待の高まりとともに、関連企業への投資熱も高まっている。以下の図表は、世界における 2011 年から 2015 年の癌治療への投資金額の推移である。2015 年は前年 2014 年と比べ 153%の成長率（11 億ドルから 28 億ドル）を記録し、投資家による同分野の期待が急激に高まったことを示している。

図表 72: 世界のベンチャーキャピタルによる癌治療企業への投資の推移（2011 年 – 2015 年）



出典: CB Insights[502]

[498] https://en.wikipedia.org/wiki/CRISPR
[499] http://www.nature.com/news/crispr-gene-editing-tested-in-a-person-for-the-first-time-1.20988
[500] http://medicalfuturist.com/what-can-you-achieve-with-crispr-therapy/
[501] http://www.nanalyze.com/2016/11/investing-crispr-cas9-gene-editing/
[502] https://www.cbinsights.com/blog/cancer-oncology-startup-funding/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

以下の図表は、2011 年から 2016 年における、最も投資を受けた癌治療企業の上位 12 社ランキングである。1 億ドルを超えるような投資案件も見られ、1 件あたりの投資額も増えてきている。

図表 73: 最も投資を受けた癌治療企業上位 12 社(2011 年 - 2016 年)

順位	会社名	額	分野、臨床試験等
1	Stemcentrx[503]	5 億 2,000 万ドル	癌幹細胞治療
2	Symphogen[504]	3 億 5,920 万ドル	癌免疫療法
3	Immunocore[505]	3 億 2,000 万ドル	T 細胞技術
4	GANYMED Pharmaceuticals[506]	2 億 6,800 万ドル	分子標的薬(モノクローナル抗体)
5	NantCell[507]	n/a	癌免疫療法
6	ADC Therapeutics[508]	1 億 500 万ドル(一部)	抗体薬物複合体(ADC)開発
7	Merus[509]	2 億 500 万ドル	二重特異性抗体の AML 治療薬
8	Celator Pharmaceuticals[510]	2 億ドル	白血病治療合剤 Ph3 開発
9	Tocagen[511]	1 億 1,620 万ドル	CAR-T 癌治療
10	Kolltan Pharmaceuticals[512]	1億 3,500 万ドル	分子標的薬(モノクローナル抗体)
11	Isarna Therapeutics[513]	n/a	TGF-β 阻害剤
12	Corvus Pharmaceuticals[514]	n/a	癌免疫療法

出典: CB Insights[515][516]、Immunocore[517]、startupticker.cn[518]

7.4 再生医療・細胞治療

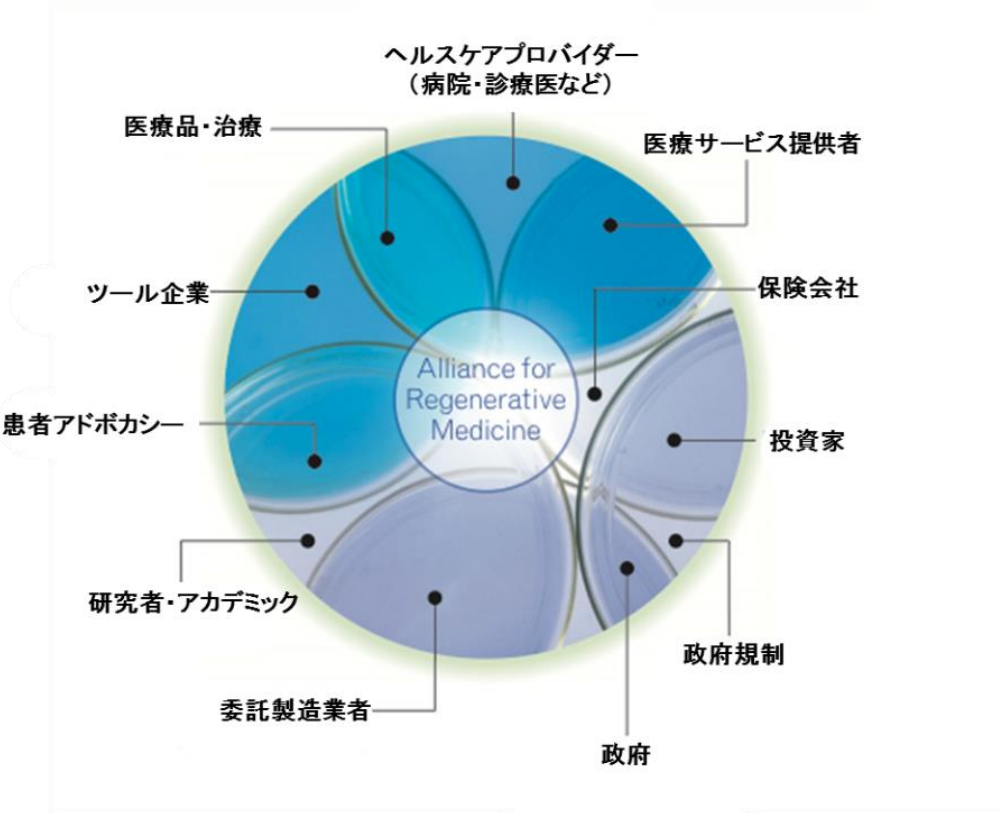
7.4.1 再生医療をめぐるエコシステム

再生医療・細胞医療は、バイオテクノロジー産業を牽引する分野のひとつである。日本も含め、各国の法整備が整い、グローバル市場として発展を遂げると期待されている。この産業は様々な分野の産業を包含しており、政策・規制から、医薬品の開発、病院・診療医、デバイス・ツール関係まで多様なステークホルダーで成り立っている。

503 https://www.cbinsights.com/company/stem-centrx
504 https://www.cbinsights.com/company/symphogen
505 https://www.cbinsights.com/company/immunocore
506 https://www.cbinsights.com/company/ganymed-pharmaceuticals
507 https://www.cbinsights.com/company/nantcell
508 https://www.cbinsights.com/company/adc-therapeutics
509 https://www.cbinsights.com/company/merus
510 https://www.cbinsights.com/company/celator-pharmaceuticals
511 https://www.cbinsights.com/company/tocagen
512 https://www.cbinsights.com/company/kolltan-pharmaceuticals
513 https://www.cbinsights.com/company/isarna-therapeutics
514 https://www.cbinsights.com/company/corvus-pharmaceuticals
515 https://www.cbinsights.com/blog/cancer-oncology-startup-funding/
516 https://www.cbinsights.com/blog/cancer-startups-exit-timeline/
517 http://www.immunocore.com/news/2015/07/immunocore-secures-320-million-205-million-in-europes-largest-private-life-sciences-financing
518 http://www.startupticker.ch/en/news/october-2016/adc-therapeutics-announces-closing-of-105-million-private-financing

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 74: 再生医療に関係するステークホルダー群



出典: Alliance[519]の資料を基にワシントンコア作成

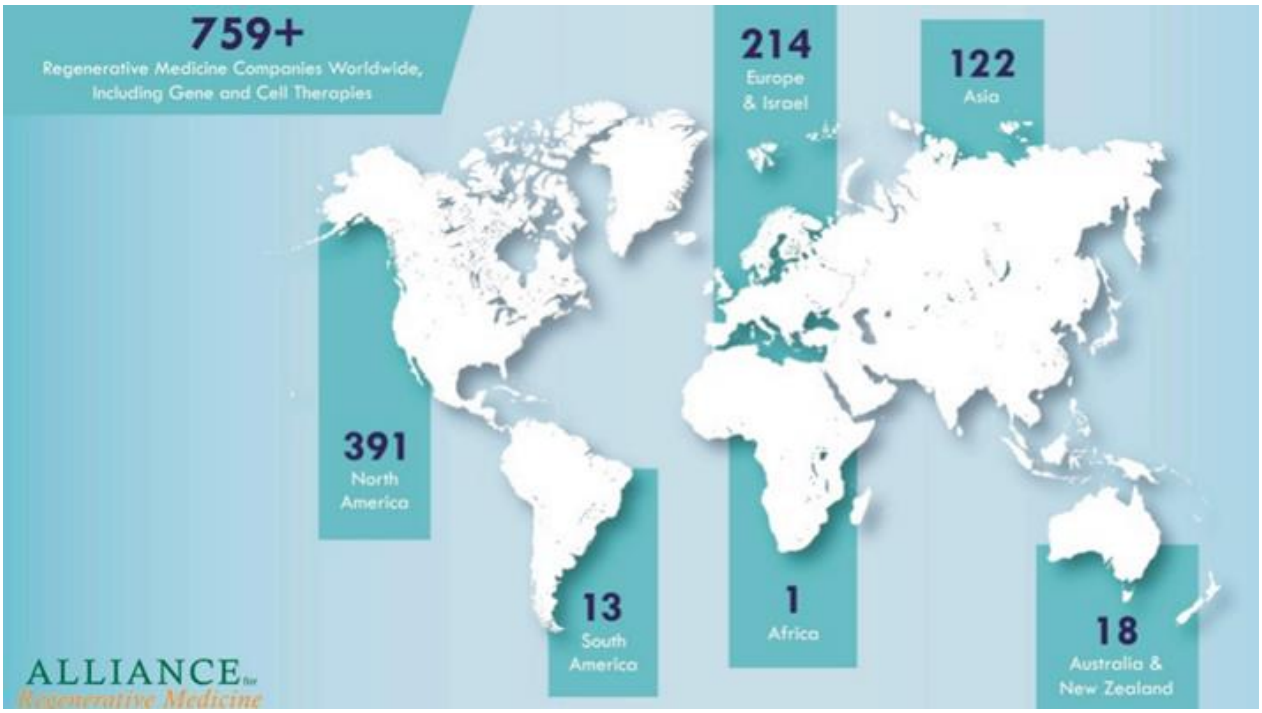
7.4.2 市場動向

再生医療産業を振興する業界団体組織 Allicance の 2016 年の統計[520]によると、再生医療関連企業は、世界全体では 759 社、そのうちの 50%以上にあたる 391 社が米国に存在する。企業数は年々増えており、世界的に再生医療産業が形成・成長していることが伺える。

[519] http://alliancerm.org/page/promise-and-potential
[520] https://alliancerm.org/sites/default/files/ARM_SOTI_2017_FINAL_web_version_.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 75: 世界各地域における再生医療関係企業数（2016 年）



出典: Alliance[521]

7.4.3 米国における研究開発予算

米国連邦政府は、再生医療分野へ多額の研究開発予算を投じており、NIH のみならず他の省庁も積極的に関与している。米国各省庁の施策やプログラムなどのアカウンタビリティを調査する Government Accounting Office (GAO)は 2012 年から 2014 年までの連邦予算を分析した。本報告書では、学際的な研究分野である再生医療への連邦政府の研究開発事業において、各省庁がどのような情報共有、研究成果の共有・公開を効果的に行っているか調査している。

以下の図表は、2012 年から 2014 年の 3 年間における再生医療関連の予算配分をグラフ化したものである。まず左の円グラフは、NIH に対する予算とその他の予算を比較したものである。予算総額は 28 億 9,391 億ドルで、このうち 25 億 4,428 億ドル（87.9%）が NIH に配分されている。尚、NIH 予算の 8 割以上が外部向け（extramural research）に対するもので、大学、研究所、病院等でのプロジェクトに支出されている[522]。一方で右のグラフは、残りの 3 億 4,963 万ドル（12.1%）について、拠出先をグラフ化したものである[523]。NIH の次に拠出額が多い順に並べると、第 2 位は国防総省（2 億 5,263 万ドル、全体の 8.7%）、第 3 位は退役軍人省（4,095 万ドル、同 1.4%）、第 4 位は国立科学財団（4,023 万ドル、同 1.4%）、第 5 位は

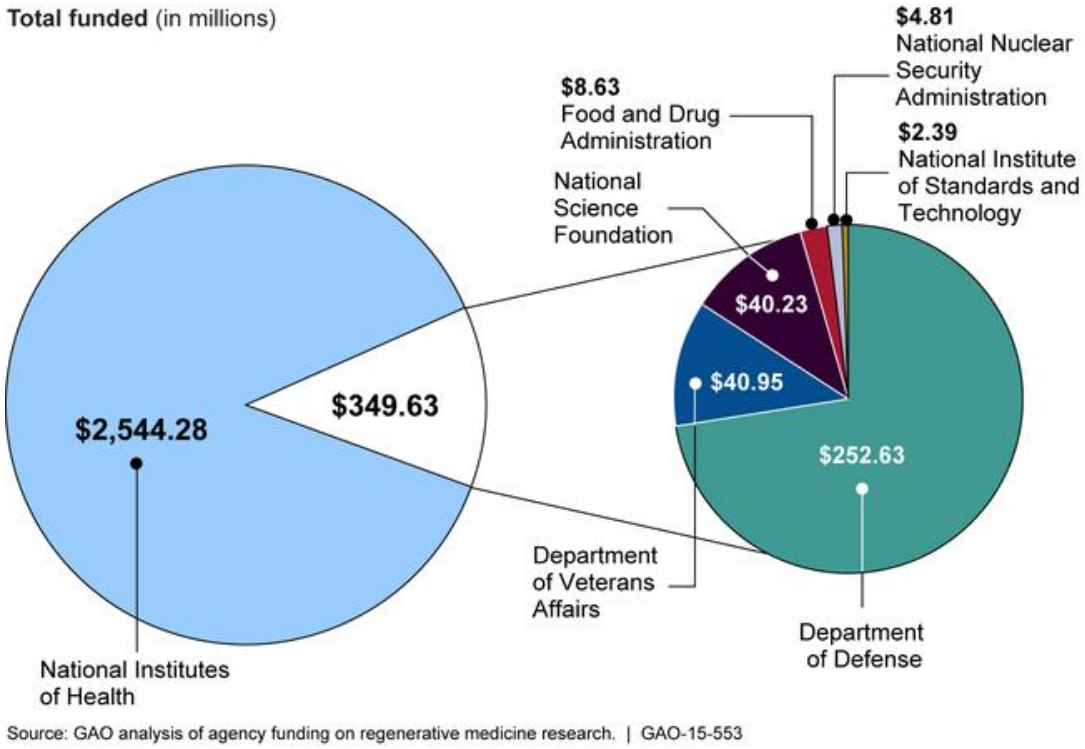
521 https://alliancerm.org/sites/default/files/ARM_SOTI_2017_FINAL_web_version_.pdf
522 同上
523 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

食品医薬品局（FDA、863 万ドル、同 0.3%）、第 5 位は核安全保障局（481 万ドル、同 0.2%）、第 6 位は国家規格協会（239 万ドル、同 0.08%）となっている。

また、各省庁の研究予算の用途は異なり、国防総省および退役軍人省は、現役および退役軍人に対する医療行為（軟骨修復や脳損傷等）が目的で、国立科学財団については科学的な基礎研究に貢献するもの、食品医薬品局については再生医療関連製品の安全性確保を目的とするもの、核安全保障局については科学的な新しい知見の活用を目的とするもの、米国標準技術研究所については再生医療関連製品の商業化を進める目的とされる[524]。

図表 76: 再生医療関連の連邦予算の内訳（2012 年 - 2014 年）



出典: GAO[525]

7.4.4 主要大学における再生医療研究開発センター

米国の主要研究大学では、再生医療研究にフォーカスをあてたセンターが数多くあり、NIH など連邦政府からの助成、民間財団、民間企業などから資金を得て、研究開発が活発に行われている。

[524] https://alliancerm.org/sites/default/files/ARM_SOTI_2017_FINAL_web_version_.pdf
[525] http://gao.gov/products/GAO-15-553

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 77: 米国の主要大学における再生医療研究センター

名称	責任者（ディレクター）	研究成果の一例
スタンフォード大学幹細胞・再生医療研究所[526]	Irving Weissman, MD	免疫システムの移植（マウス）
カリフォルニア大サンフランシスコ校（UCSF）イーライ・アンド・イディス・ブロード再生医学幹細胞研究センター[527]	Arnold Kriegstein, MD, PhD	インスリン生産細胞であるβ細胞の研究
カリフォルニア大ロサンゼルス校（UCLA）イーライ・アンド・イディス・ブロード再生医学幹細胞研究センター[528]	Owen N. Witte, M.D.	慢性肉芽腫症(chronic granulomatous disease; CGD)の臨床試験
カリフォルニア大アーバイン校（UCI）スー・アンド・ビル・グロース幹細胞研究センター[529]	Sidney H. Golub, PhD	ES 細胞の臨床試験がはじめて承認された
ハーバード大学 Stem Cell Institute[530]	Scott Armstrong, MD, PhD	疾病ごとにプログラムが設定されている[531]。
イェール大学医学部 Yale Stem Cell Center[532]	Haifan Lin, PhD	学際的プログラム
ミネソタ大学 Minnesota Stem Cell Institute[533]	Jakub Tolar, MD, PhD	幹細胞研究分野において全米初の学際組織。
テュレーン大学医学部（Center for Stem Cell Research and Regenerative Medicine）[534]	Bruce A. Bunnell, PhD	造血間細胞関連
ウィスコンシン大学マディソン校（Stem Cell and Regenerative Medicine Center）[535]	Timothy J. Kamp	ES 細胞、心筋再生医療
ジョンズ・ホプキンス大学医学部（Institute for Cell Engineering：ICE）[536]	Ted Dawson	幹細胞生物学、免疫生物学
ジョージタウン大学メディカルセンター（Center for Cell Reprogramming）[537]	Richard Schlegel and Xuefeng Liu	癌細胞研究
ピッツバーグ大学（McGowan Institute for Regenerative Medicine）[538]	William R. Wagner, PhD	実践的な成果をまとめるページが存在する[539]
テキサス A&M 大学医学部（Institute for Regenerative Medicine）[540]	Darwin J. Prockop M.D., Ph.D.	骨髄由来間葉系幹細胞
ノートルダム大学（Center for Stem Cells and Regenerative Medicine）[541]	不明	学際的プログラム カソリック的価値観との両立を目指す
ペンシルバニア大学（Institute for Regenerative Medicine）[542]	Ken Zaret, Ph.D.	皮膚細胞から肺細胞へのリプログラミング[543]

[526] http://med.stanford.edu/stemcell.html
[527] https://stemcell.ucsf.edu
[528] https://stemcell.ucla.edu
[529] http://stemcell.uci.edu
[530] http://hsci.harvard.edu
[531] http://hsci.harvard.edu/disease-programs
[532] http://stemcell.yale.edu
[533] https://www.stemcell.umn.edu
[534] http://www2.tulane.edu/som/regenmed/
[535] https://stemcells.wisc.edu
[536] http://www.hopkinsmedicine.org/institute_cell_engineering/research_programs/
[537] https://cellmedicine.georgetown.edu
[538] http://www.mirm.pitt.edu
[539] http://www.mirm.pitt.edu/our-innovations/impact/
[540] https://medicine.tamhsc.edu/irm/msc-distribution.html
[541] http://stemcell.nd.edu
[542] http://irm.med.upenn.edu

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

出典: 各種資料を基にワシントンコア作成[544]

7.4.5 再生医療関連の疾病別・フェーズ別臨床試験数

2016 年、米国で行われている再生医療関連臨床試験のうち 45%は癌治療、11%は心臓疾患である。

図表 78: 再生医療疾病別の臨床試験数(2016 年)

治療法カテゴリー	臨床試験数(単位:件)
癌	360
心臓・血管	88
中枢神経	49
伝染病	46
筋肉、骨格	43
皮膚	41
免疫、炎症	35
眼科	34
内分泌、代謝、遺伝疾患	34
血液	21
消化器	16
泌尿生殖器異常	11
呼吸器	9
手術	8
リンパ系疾患	2
耳疾患	2
放射線損傷	1
歯科	1
成人病	1

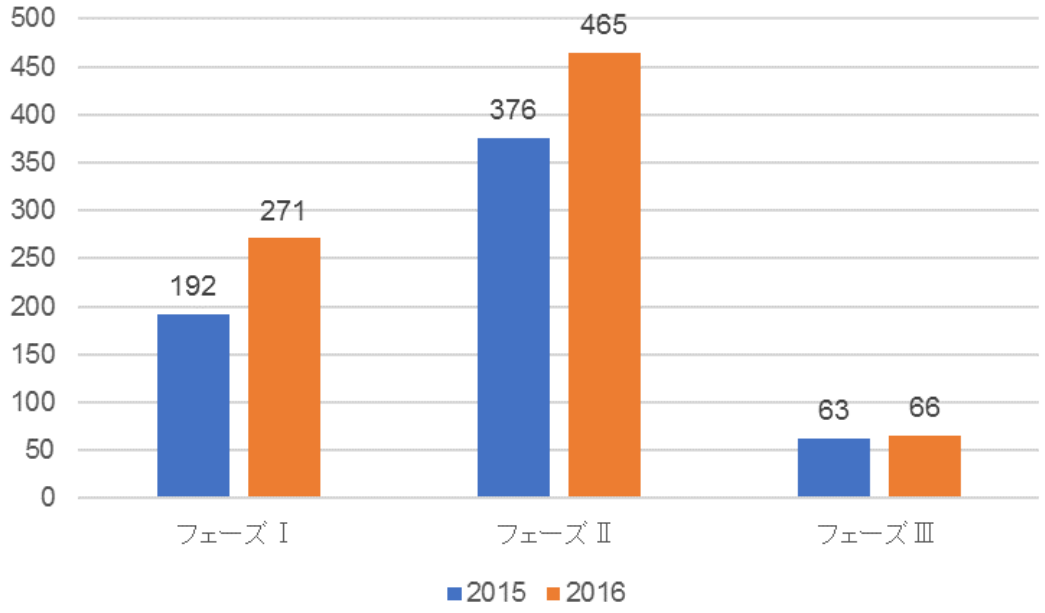
出典: Alliance[545]の資料を基にワシントンコア作成

再生医療の臨床試験における、各フェーズ別の実施状況は、フェーズ 1 の実施期間が数ヶ月間で、約 70%がフェーズ 2 に進む。フェーズ 2 の実施期間は数ヶ月～2 年間で、約 33%がフェーズ 3 に進む。フェーズ 3 の実施期間は 1 年間から 4 年間で、およそ 25～30%が承認に至るという[546]。

543 http://irm.med.upenn.edu/science-impacting-the-clinic/clinical-advances-reproductive-medicine/
544 2017 年 2 月の情報に基づく。
545 http://alliancerm.org/sites/default/files/ARM_SOTI_2017_FINAL_web_version_.pdf
546 http://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Drugs/ucm405622.htm

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 79: 再生医療フェーズ別臨床実験数(2015 年と 2016 年比較)



出典: Alliance[547]の資料を基にワシントンコア作成

7.4.6 21 世紀治療法による振興策

2016 年 12 月に成立した 21 世紀治療法(21st Century Cures Act)では、最先端医療をより加速化する情報が盛り込まれており、中でも、再生医療に関する承認を早める規制を整備するための措置が盛り込まれている。FDA の医薬品カテゴリーに「再生先端治療指定(Regenerative Advanced Therapy Designation:RATD)」が設置され、新薬についてこの指定を請求できるようになった[548]。こういった米国内での再生医療に対する動向に関しては、日本や諸外国における再生医療関連サポートへの動きが影響していると、再生医療連盟(Alliance for Regenerative Medicine: ARM)の Michael Werner 常任理事はインタビューで語っている。[549]。

RATD への申請時は前臨床試験結果を提出するだけでよく、Investigational New Drug Exemption (IND)と一緒に FDA に提出するか、または、既に提出した IND の修正条項として提出する 2 通りの方法がある。申請後 60 日以内に、FDA に新設された Office of Tissues and Advanced Therapies (OTAT)から申請者に RATD に指定されたかどうかが連絡される[550]。21 世紀治療法では、FDA の医薬品承認プロセスが改正され、新薬承認がより迅速に行われると期待されているが、規制緩和に対し安全面から反対する声もある。

547 http://alliancerm.org/sites/default/files/ARM_SOTI_2017_FINAL_web_version_.pdf
548 https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ucm537670.htm
549 http://www.ipscell.com/2016/11/chat-michael-werner-arm-cures-act-regenerative-medicine-provisions/
550 http://www.raps.org/Regulatory-Focus/News/2017/01/20/26651/FDA-Begins-Accepting-Regenerative-Therapy-Applications-for-RAT-Designation/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

7.4.7 注目される細胞治療

最近、注目されている細胞医療のひとつとして、患者の免疫細胞を変化させて癌治療を行う CAR T 細胞療法（Chimeric Antigen Receptor T-Cell Therapy）が挙げられる[551]。人間の免疫組織はリンパ細胞と呼ばれる白血球の一部が大部分を占めており、そのリンパ細胞は B 細胞と T 細胞に分けられる。このうち、T 細胞を人工的に遺伝変化させて、キメラ抗原受容体（Chimeric Antigen Receptor: CAR）という T 細胞受容体を作りだし、癌治療に用いるのが CAR T 細胞療法である[552]。CAR は、T 細胞が腫瘍上にある抗原（antigen）と呼ばれる特定のタンパク質を認識できるようにするためのタンパク質であり、T 細胞の表面に作られる受容体である。

従来の癌治療は、外科手術、抗がん剤治療、放射線治療などが中心であった。しかし近年、imatinib (Gleevec)や trastuzumab (Herceptin)などの癌細胞に主に見られる特定の分子変化に的を絞り、癌細胞を集中的に治療する医薬品がいくつかの癌の種類に於いて標準的な治療法になりつつある。そういった背景のもと、免疫療法[553]を用いた癌治療に一段と注目が集まっている[554]。また臨床試験段階ではあるが、免疫療法の方法の一つに養子細胞移植（Adoptive Cell Transfer: ACT）と呼ばれる方法がある。この方法では、患者自身の血液から T 免疫細胞を集め、その細胞自体が腫瘍を認識・攻撃するように、細胞を変換する方法がある。既にこの方法により癌が進行している患者やリンパ腫の患者に対して有効性があったと報告されている。こういった手法は、NIH の国立癌研究所（National Cancer Institute: NCI）の Steven Rosenberg 医師と彼の同僚らによって、進行性メラノーマ患者向けに始められた。NCI の Crystal Mackall 博士によると、CAR T 細胞はこれまで研究されてきたどの免疫治療法よりも有力であるとみなされている[555]。

対象となる癌の種類としては、急性リンパ性白血病、既存治療に抵抗性となった悪性黒色腫、腎癌、肺癌で、抗 PD-1 抗体、あるいは抗 CTLA4 抗体などがある。

米 Juno Therapeutics 社が開発した CART 治療法である「JCAR015」は、2016 年 7 月までに、治療後の患者 3 名が死亡しており、米 FDA により同治療法に対し一時的な停止命令が発せられた[556]。開発が先行しているのは米 Novartis 社の「CTL019」の国際共同治験（フェーズ II）である。CTL019 は、CD19 を標的とした CAR-T で、ペンシルバニア大学によって開発され、Novartis 社が開発販売権を取得している[557]。2016 年 12 月 4 日に小児および若年成人を対象とした再発・難治性 B 細胞性急性リンパ芽球性白血病に

[551] https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/research/car-t-cells
[552] https://www.lls.org/treatment/types-of-treatment/immunotherapy/chimeric-antigen-receptor-car-t-cell-therapy
[553] 患者の免疫組織そのものがもつ自然な治癒力を活用して疾患を治療する療法。
[554] https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/research/car-t-cells/
[555] 同上
[556] http://www.ascopost.com/issues/august-10-2016/juno-therapeutics-to-resume-jcar015-phase-ii-rocket-trial-after-fda-clinical-hold/
[557] https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-presents-results-first-global-registration-trial-ctl019-pediatric-and

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

対する治験「ELIANA 試験」の結果が公表され、50 症例の中間解析の結果、81%（41 例）の患者で完全寛解（血球の回復が不十分であるが、完全寛解を示した患者も含む）を達成した[558]。

Novartis 社はこの試験結果も踏まえ、2017 年初めには FDA に、2017 年後半には欧州 EMA に承認申請を行いたい意向である。CTL019 は 2014 年に FDA から優先的に承認が下りる Breakthrough Therapy の指定[559]、2016 年に欧州 EMA からプライム指定（PRIME=PRIority MEdicines）の指定を受けている[560]。T 細胞による免疫療法に特化した他のスタートアップ企業としては、米 Kite Pharma 社が挙げられる。同社は、非ホジキンリンパ腫治療法である「KTE-C19」治療薬を開発している[561]。これは、CD19 と呼ばれる悪性リンパ腫細胞の表面に発現している抗原を標的とする細胞治療薬で、静脈内投与により再発性または難治性の悪性リンパ腫に対する治療効果が期待されている。FDA から画期的治療薬指定を受けている他、2016 年 12 月に承認申請を行っている。また、欧 EMA（欧州医薬品庁）からプライム指定を受けている[562]。

7.4.8 細胞治療製品の市場状況

再生医療関連分野では、既に多くの製品が市場に出回っている。以下の図表は、米国市場に出回っている細胞治療製品のリストである。

図表 80: 細胞治療製品リスト

製品名	製造者	用途
ALLOCORD, HPC Cord Blood	SSM Cardinal Glennon Children's Medical Center	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯
Autologous Fibroblasts	Laviv (Azficel-T), Fibrocell Technologies	成人の法令線の皺の改善
Autologous Cultured Chondrocytes	Carticel, Genzyme BioSurgery; MACI, Vericel Corp.	膝の手術やダメージを受けた膝の軟骨組織の治療の一部として使用
BCG Live (Intravesical)	TheraCys, Sanofi Pasteur Limited	膀胱内の上皮内癌治療と予防
Clevecord, HPC Cord Blood	Cleveland Cord Blood Center	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯
GINTUIT (Allogeneic Cultured Keratinocytes and Fibroblasts in Bovine Collagen)	Organogenesis Incorporated	口腔軟組織の再生治療用細胞シート
HEMACORD (HPC, cord blood)	New York Blood Center	臍帯血由来造血系前駆細胞（HPC-C）を用いた細胞療法
Ducord, HPC Cord Blood	Duke University School of Medicine	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯
HPC, Cord Blood	Clinimmune Labs, University of Colorado Cord Blood Bank	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯

[558] https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-presents-results-first-global-registration-trial-ctl019-pediatric-and
[559] https://www.nibr.com/news/media-releases/novartis-personalized-cell-therapy-ctl019-receives-fda-breakthrough-therapy
[560] https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-presents-results-first-global-registration-trial-ctl019-pediatric-and
[561] http://kitepharma.com/pipeline/
[562] http://ir.kitepharma.com/releasedetail.cfm?releaseid=1002522

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

製品名	製造者	用途
HPC, Cord Blood BLA 125432	LifeSouth Community Blood Centers, Inc.	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯
HPC, Cord Blood - BLA 125585	Bloodworks	臍帯血由来の血液製剤である造血前駆細胞臍帯
IMLYGIC	BioVex, Inc., a subsidiary of Amgen Inc.	皮膚およびリンパ節のメラノーマ病変の治療に対する腫瘍溶解性ウイルス製剤
PROVENGE (sipuleucel-T)	Dendreon Corp.	前立腺癌ワクチン
Sterile Cord Blood Collection Unit with Anticoagulant Citrate Phosphate Dextrose Solution USP (CPD)	MacoProductions S.A.S.	経膣分娩若しくは腹式分娩における 40-250 ml のへその臍帯血の採取

出典：FDA[563]

[563] https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ApprovedProducts/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

8　バイオテクノロジー産業に影響を与えた出来事

本章では、バイオテクノロジー産業に影響を与えた出来事を記述する。具体的には、エボラ出血熱、ジカ熱、パーソナル DNA の台頭、Theranos 事件、Manufacturing USA、再生医療クリニックなどについて記述する。

8.1　エボラ出血熱、ジカ熱の流行

感染症への対応がバイオテクノロジー産業に大きな影響をもたらした。感染症による被害は多大で、エボラ出血熱の場合、1 万 1,000 人もの人命を奪っただけでなく、西アフリカに 60 億ドルもの経済打撃をも及ぼしており、また、2016 年にはジカ熱がブラジルをはじめとする中南米地域において発生するなど、感染症が世界的な問題となり、ワクチンや治療薬の研究開発への投資が重要視されているところである。一方、ワクチンの開発費は最大でも 18 億ドルと推定されており、予防の観点からワクチン開発へ更に投資するべきとの声も上がっている[564]。これを受けて政府支援が継続的に増加すれば、株式市場の後押しも受け、感染症予防・治療分野におけるバイオテクノロジー産業が今後さらに成長するとの声もある[565]。

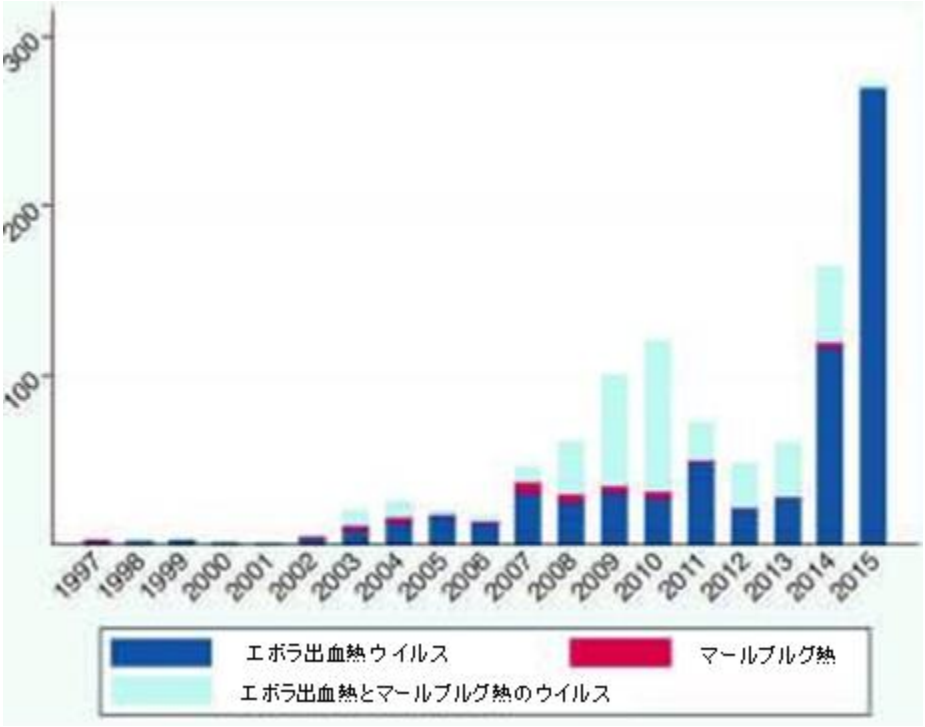
例えば、エボラ出血熱に対する研究費の推移を見ると、2014 年の流行で研究費が跳ね上がっており、1997 年から 2015 年までの 17 年間の研究費総額（10 億 3,500 万ドル）のうち 42%（4 億 3,540 万ドル）が 2014 年から 2015 年までの 2 年間で費やされている（下図表参照）。尚、この研究費にはエボラ出血熱のほかに、エボラ出血熱と同様の症状を引き起こす致死率の高いマールブルグ熱に対する研究費も含まれている。10 億 3,500 万ドルのうち、エボラ出血熱への研究費は 63%（6 億 524 万ドル）で、マールブルグ熱の研究費は 3.4%（3,490 万ドル）、エボラ出血熱とマールブルグ熱を含むフィロウイルス全体の研究費は 33.6%（3,483 万ドル）である[566]。

[564] http://www.nature.com/nbt/journal/v34/n4/full/nbt.3532.html?WT.feed_name=subjects_public-private-partnerships
[565] https://www.kaloramainformation.com/Content/Blog/2016/08/29/Recent-FDA-and-HHS-Actions-Spur-Development-of-US-Zika-Test-Market
[566] https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5112007/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 81: 全世界におけるエボラ出血熱及びマールブルグ熱の研究費の推移（1997 年 - 2015 年）

（単位：100 万ドル）



出典：NIH[567]

米国においても、エボラ出血熱の治療薬・ワクチンへの関心は高まりを見せ、エボラ出血熱が流行した 2014 年 3 月には、NIH が、同感染症の治療に関する研究プロジェクト 15 件に対して合計 2,800 万ドルの助成金を給付している[568]。連邦議会が NIH 傘下の国立アレルギー感染病研究所（National Institute of Allergy and Infectious Diseases: NIAID）に対して認めたエボラ出血熱関連の 2015 年度予算は約 2 億 3,800 万ドルに上る[569]。

NIH から助成金を受給した機関の 1 つに、カリフォルニア州サンディエゴを拠点とするバイオテク企業である Mapp Biopharmaceutical 社[570]が挙げられる。同社は、リベリアでの援助活動中にエボラ出血熱に感染した 2 人の米国民に対して実験的に投与された治療薬である ZMapp を開発したことで注目を集めた[571]。2014 年 9 月には保健福祉省（Department of Health and Human Services：HHS）事前準備対応次官補局（Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response: ASPR）の生物医学先端研究開発局（Biomedical Advanced Research and Development Authority: BARDA）からも支援を受けた。

567 https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5112007/
568 http://www.reuters.com/article/us-health-ebola-tekmirastock-idUSKBN0G420P20140804
569 http://www.sciencemag.org/news/2016/04/funding-shift-zika-helps-nih-more-research-money-requested
570 http://mappbio.com/
571 http://www.reuters.com/article/us-health-ebola-tekmirastock-idUSKBN0G420P20140804

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

BARDA は 18 か月契約で 2,490 万ドルを拠出し、治療薬の開発と製造を加速化させ、FDA 承認に向けて同社の製造や規制承認、非臨床活動において専門技術サポートも行った[572]。

Mapp Biopharmaceutical 社の他にも、エボラ出血熱の治療薬やワクチンの開発会社に政府支援が行われている。2014 年 10 月、BARDA はメリーランド州ボルチモアを拠点とする Profectus BioSciences 社に対して、同社が開発しているエボラ出血熱ワクチンへの支援として 580 万ドルを提供した。同社は、2016 年 1 月に新ワクチン「VesiculoVax™」の臨床試験を開始した[573]。

また、2016 年に流行したジカ熱のワクチン・治療薬に対する投資も行われている。オバマ前政権は 2016 年 4 月、エボラ出血熱のために予算計上したものの使われていなかった 5 億 8,900 万ドルの資金をジカ熱に費やすことを決定し、更に 20 億ドルの予算を承認するよう議会に要請している[574]。

エボラ出血熱やジカ熱のワクチン・治療薬に対する政府投資が進んでいるが、後押しするのは政府だけではない。ジカ熱の治療開発に取組む Inovio Pharmaceuticals 社、GlaxoSmithKline 社、Sanofi 社が 2016 年 1 月にワクチン開発が予定より早く進んでいると発表した後、3 社の株価は発表前と比べてそれぞれ 15.6%、1.6%、1.7%上昇した[575]。Mapp Biopharmaceutical 社より先にエボラ出血熱治療薬の開発を進めていたカナダ企業の Tekmira 社の株価も、エボラ出血熱流行を受けて、ZMapp が台頭する前には 70%もの上昇を見せていた[576]。政府の資金援助による開発が進めば、今後、ワクチンや治療薬を期待する投資家の支援を取り込むことにつながる可能性がある。

同様の構図は資金援助以外の政府の行動にも見受けられる。FDA は 2016 年 8 月、ジカ熱の蔓延を受けて、輸血等による感染を防止するべく、米国内の輸血用血液及び血液製剤に対してジカウイルスの検査を実施するよう推奨した。米国の血液検査市場は横ばいが続いていたが、ジカウイルス検査という新たな需要が市場成長につながると期待されている[577]。

[572] http://www.fiercebiotech.com/biotech/hhs-contracts-mapp-biopharmaceutical-to-develop-ebola-drug
[573] http://www.profectusbiosciences.com/pdfs/releases/2016%200119%20Profectus%20Ebola%20Vaccine%20Ph1%20Initiation.pdf
[574] http://www.sciencemag.org/news/2016/04/funding-shift-zika-helps-nih-more-research-money-requested
共和党が主導権を握る議会では 20 億ドルの予算は認められなかった。
http://www.raredr.com/news/is-zika-on-president-elect-trumps-agenda
[575] http://www.forbes.com/sites/alexadavis/2016/01/29/biotech-stocks-soar-in-race-to-create-zika-vaccine/#346cdd57da49
[576] http://www.reuters.com/article/us-health-ebola-tekmirastock-idUSKBN0G420P20140804
[577] https://www.kaloramainformation.com/Content/Blog/2016/08/29/Recent-FDA-and-HHS-Actions-Spur-Development-of-US-Zika-Test-Market

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

8.2 パーソナル DNA 検査の台頭

技術の進化によって DNA サンプルの取得や輸送が迅速かつ容易に実施できるようになったことを受け、消費者が直接入手できる DTC（Direct-to-Consumer）の DNA 検査サービスが広がりを見せている。DTC の DNA 検査サービスを提供する 246 社の企業を対象とした調査研究によると、多くの企業が医療以外を目的とした検査も提供しており、医療のみを目的とする検査を提供する企業は 31 社（12.6%）に留まっている[578]。

DTC サービスは、消費者がオンラインで注文後、自宅に郵送された検査キットで DNA サンプルを採取してキットを返送すれば、自宅に検査結果が送られる仕組みとなっている。検査内容や検査項目も幅広くなっており、23andMe 社や、AncestryDNA 社、Gene by Gene 社、Illumina 社による新ベンチャーである Helix 社など、医療目的で DNA 検査を提供する企業もあれば、祖先解析や能力など医療以外の目的で DNA 検査を提供する企業も台頭してきている[579]。

図表 82: DNA 検査分野と検査を提供する企業の数とその割合

分野	企業数*	割合
祖先	74	30%
運動能力	38	15%
子どもの才能	4	2%
パートナー紹介（マッチング）	3	1%
内密検査（不貞調査など）	34	14%
ニュートリゲノミクス	74	30%
父子鑑定（法的鑑定を除く）	88	36%
法的父子鑑定	83	34%
遺伝的関連性	92	37%
キャリア	27	11%
医療検査のみ	31	13%

*分析対象となった企業数、合計 246 社

出典：Science Direct[580]

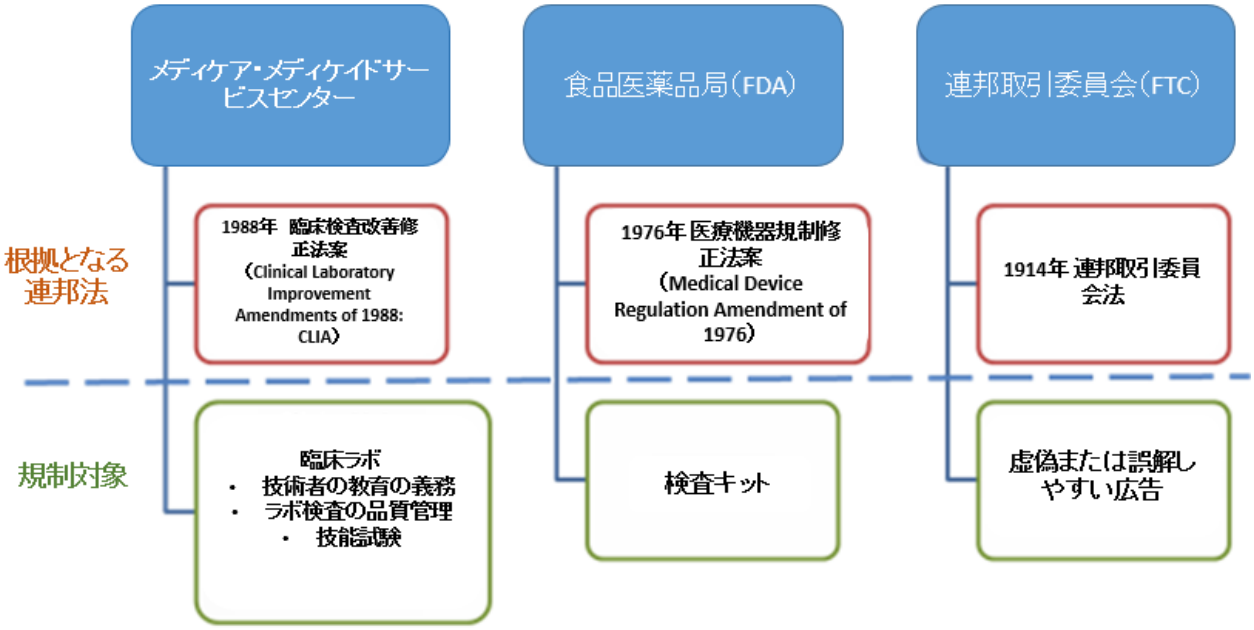
多彩な分野に広がる DNA 検査であるが、疾患の素因遺伝子やキャリアの状態など、臨床的な実用性及び妥当性が証明されている検査もある一方で、子どもの才能や運動能力を特定し、相性が良いとされるパートナーを紹介するなど、妥当性が疑われる検査サービスも提供されており、一部社会問題となっている[581]。米国において DNA 検査を規制するのは、①臨床検査室を規制する HHS 傘下のメディケア・メディケイド・サービス・センター（Centers for Medicare and Medicaid Services: CMS）、②検査キットを規制する食品

[578] http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2212066116300011
[579] 同上、http://www.toptenreviews.com/services/home/best-dna-testing-kits/
[580] http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2212066116300011
[581] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

医薬品局（Food and Drug Administration: FDA）および③虚偽または誤解しやすい広告を規制する連邦取引委員会（Federal Trade Commission: FTC）である[582]。

図表 83: DNA 検査を規制する連邦政府機関



出典：NIH[583]

DNA 検査を巡る問題に対応するため、FDA は、懸念のある DNA 検査キットメーカーに対して書簡を送付している[584]。例えば、2010 年 7 月には、アルツハイマー病の素因遺伝子検査を行う Graceful Earth 社に書簡を送り、アルツハイマー病 DNA 検査キットに対する FDA の承認番号、もしくは承認が必要でないならばその根拠を提示するよう求めている[585]。また、2009 年から交渉を続けていたという 23andMe 社に対しても 2013 年 11 月に警告状を送った。その内容は、同社が提供している遺伝子検査サービスが法的には医療機器の定義に当て嵌まるものであり、FDA の規制対象になるというものだった。そして、同社が FDA の承認なしに、DNA 検査で遺伝子疾患の診断が可能であると謳い、糖尿病やアルツハイマー病などの疾患のリスク指標にもなると主張したことを指摘した上で、遺伝子検査キットの販売を停止するように命じた[586]。これを受けて 23andMe 社は同年 12 月、様々な遺伝的変異体を検出し、消費者の健康リスク情報を提供するとしていた DNA 検査（99 ドル）に関する広告を中止することを発表した[587]。

582 https://www.genome.gov/10002335/regulation-of-genetic-tests/
583 同上
584 http://www.fda.gov/MedicalDevices/ProductsandMedicalProcedures/InVitroDiagnostics/ucm219582.htm
585 http://www.fda.gov/downloads/MedicalDevices/ProductsandMedicalProcedures/InVitroDiagnostics/UCM219585.pdf
586 https://arstechnica.com/science/2013/11/fda-orders-personal-genetics-company-23andme-to-stop-selling-tests/
587 http://www.reuters.com/article/us-23andme-fda-idUSBRE9B202G20131203

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

医療目的以外での DNA 検査サービス市場が広まっており、多くのサービスがインターネットで販売されている現状に対して、既存の規制枠組みの検討が追いついていないことも指摘されている。いまや遺伝子検査サービスは医師や遺伝子カウンセラーを介さずに、消費者から簡単に DNA サンプルを簡単に取得し、輸送できるようになったため、DTC の DNA 検査サービス市場に参入する企業やそのサービス内容が増大し、多様化している。そのため、検査の質における差が拡大していることも指摘されており、インターネット取引全般に対する規制を含めた新たな規制枠組みも必要とされている[588]。

8.3 Theranos 事件

Theranos 社[589]は、当時 19 歳であった Elizabeth Holmes 氏が 2003 年に設立した医療技術企業で、画期的な血液検査手法を開発して注目を集めた。従来の血液検査は、1960 年代から大きく変化してないにもかかわらず、その検査手法は複雑で、検査自体も高額である。血液採取は、病院または開業医のオフィスで行われなければならない上に、バイアルに採取した血液の検査結果が出るまで数週間待たなければならないこともある。また、注射針による血液採取を好まない患者は、その重要性にもかかわらず血液検査を避ける傾向にある。Theranos 社の新技術では、数滴の血液だけで従来と同じ検査をより迅速かつ低価格で実施することができる。詳しい検査技術は公開されなかったものの、従来は培養技術を用いて検査していたウイルスやバクテリアの検出を DNA 測定で実施することで、より早く検査結果を報告できると Holmes 氏は述べている。2013 年には全米に薬局チェーンを展開する Walgreen 社が、Theranos Wellness Center を全米の同チェーンの施設内に設置すると発表し、2014 年の Theranos 社の時価総額は 90 億ドルに上った[590]。同社の株式の 50%を保有する Holmes 氏は、世界有数の経済誌である Forbes 誌で 2014 年度の最も裕福な米国人 400 人に選出された[591]。

しかし、2015 年に Theranos 社の技術及び透明性に疑問の声が上がり始めた。同年 10 月に、同社が提供する 240 項目の血液検査のうち、同社主要技術であるエジソン（Edison）を使って実施されているものは 15 項目にすぎないことに加えて、同社の検査結果の正確性そのものへの懸念があるとして、米紙 Wall Street Journal 誌が報道した。Theranos 社は、新規技術への単なる揶揄にすぎないとしていたが、2016 年 1 月に、監督省庁である CMS が同社の血液検査が患者の健康及び安全を危機に曝しているとの書簡を送付した。Theranos 社は、CMS の指摘に対応しているとしていたが、同年 6 月には、Holmes 氏の自己資本は 0 ドルと評価され、Walgreen 社も Theranos 社との連携を打ち切り、これまでに設置していた Theranos Wellness Center を閉鎖するに至った。また同年 7 月には、Holmes 氏に対して、2 年間の検査サービス事業禁止命令も出されている。Theranos 社は 2016 年 10 月、同社が雇用する社員の 43%にあたる 340 名を解雇し、検査事業を打ち切り、「ミニラボ（miniLab）」と呼ばれるという新たな機器の開発に方

588 http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2212066116300011
589 https://www.theranos.com/
590 http://www.businessinsider.com/theranos-founder-elizabeth-holmes-is-a-billionaire-2014-9
591 http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2016/10/08/bad-blood-the-decline-and-fall-of-elizabeth-holmes-and-theranos/#35563f957400

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

針を転換しているが、同社の主要投資機関である Partner Fund Management が、Theranos 社は 2014 年に虚偽の説明をして不当に投資に誘い込んだとして訴訟を提起するという事態にも至っている[592]。

Theranos 社による一連の騒動を受け、バイオベンチャー業界に対する投資家の懐疑が深まり、これまで以上に検査結果の実証を求めるという「Theranos 効果」が生じたと言われている。しかし、Theranos 社は、普通ならば起りえない「アウトライアー（外れ値）であった」というのがバイオテク産業の見解である。通常、医療分野においては、医療専門家が主導して、外部機関の評価に裏付けられた優良な医療技術のみが成功するとされており、Theranos 社のように技術内容を秘匿し、医療専門家が役員に含まれていなかったケースは従来のバイオベンチャーとは異なっていたという。今後もバイオテクノロジー産業における革新的な技術へ追求は続くものの、医療技術の販売には臨床試験を経ることが必要であり、世間にデータを秘匿することはほぼ不可能であることから、成功の鍵はデータの信頼性に依存することになる[593]。

図表 84: Theranos 事件のタイムライン

2015 年 7 月 2 日	指先から全血を採る検査の FDA から承認を得る
2015 年 7 月 8 日	Theranos 社東海岸に進出。大手民間医療保険会社の BlueCross 系列のキャリアと提携し、ペンシルベニア州に Theranos Wellness Center を設置
2015 年 7 月 16 日	Theranos Wellness Center が FDA 認可を受ける
2015 年 10 月	Wallstreet Journal 紙に同社の検査の整合性に疑問を呈する記事が掲載される
2015 年 10 月 27 日	FDA が Theranos は認証を受けていない機器を利用していると発表
2015 年 11 月	大手スーパーチェーン Safeway との 3 億 5,000 万ドルの契約破棄
2016 年 4 月	CMS が Theranos の血液検査は正確ではないと警告するも、対応せず、再度警告される
2016 年 5 月 11 日	同社会長と COO が Theranos を去る
2016 年 6 月 12 日	Walgreen が Theranos の提携破棄。40 の Theranos Wellness Center を閉鎖
2016 年 7 月 8 日	Elizabeth Holmes 氏の臨床検査業界への関与が 2 年間にわたって禁止される

出典：Business Insder の資料を基にワシントンコア作成[594]

8.4 バイオマニュファクチャリングの官民連携

米国政府による製造業活性化の官民連携パートナーシッププロジェクトにおいて、バイオテクノロジー産業においてもバイオ製品の製造基盤を築くためにネットワークの構築を開始した。

8.4.1 Manufacturing USA 概要

米国政府は 2014 年、製造業活性化政策の一環として「全米製造イノベーションネットワーク（National Network for Manufacturing Innovation: NNMI、通称：Manufacturing USA）と呼ばれる高度製造拠点作りのネットワーク構想を立ち上げた[595]。オバマ前米大統領は、このネットワークを構築して、産学官による連

[592] http://www.forbes.com/sites/matthewherper/2016/10/08/bad-blood-the-decline-and-fall-of-elizabeth-holmes-and-theranos/#35563f957400; http://www.businessinsider.com/timeline-of-theranos-controversy-2016-10; http://www.businessinsider.com/partner-fund-management-sues-theranos-2016-10
[593] http://www.businessinsider.com/was-there-a-theranos-effect-in-biotech-2017-1
[594] http://www.businessinsider.com/timeline-of-theranos-controversy-2016-10
[595] https://www.manufacturing.gov/; https://www.manufacturing.gov/nnmi/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

携を通じて新技術を開発すると伴に、人材教育などをきっかけに米国製造業の競争力を強化していくことを目標に掲げた[596]。NNMI は、地域のハブとして機能する「製造イノベーション研究所（Manufacturing Innovation Institute: MII）」から構成され、デジタル製造や軽量金属、次世代半導体デバイスなど、各 MII が専門的な技術分野を持つ。2017 年 1 月 24 日時点、14 機関の MII がある[597]。当初、先進的な製造技術とプロセスの拡大に向け、官民による同等の資金提供で 15 の MII からなるネットワークを構築し、10 年間で MII の数を 45 に増やす計画が提案された[598]。Manufacturing USA の運営は、商務省（Department of Commerce: DOC）傘下の国立標準技術研究所（NIST）に本部を置く、先進製造国家プログラム室（Advanced Manufacturing National Program Office: AMNPO）が担当している。AMNPO は製造業に関わる連邦政府機関の代表者、製造業企業や大学から出向しているフェローから構成され、官民パートナーシップに主眼を置きながら先進製造分野を加速化する役割を担う。また、AMNPO は国防総省（Department of Defense: DOD）、エネルギー省（Department of Energy: DOE）、航空宇宙局（NASA）、全米科学財団（NSF）、教育省（Department of Education: ED）、農務省（Department of Agriculture: USDA）と連携している[599]。

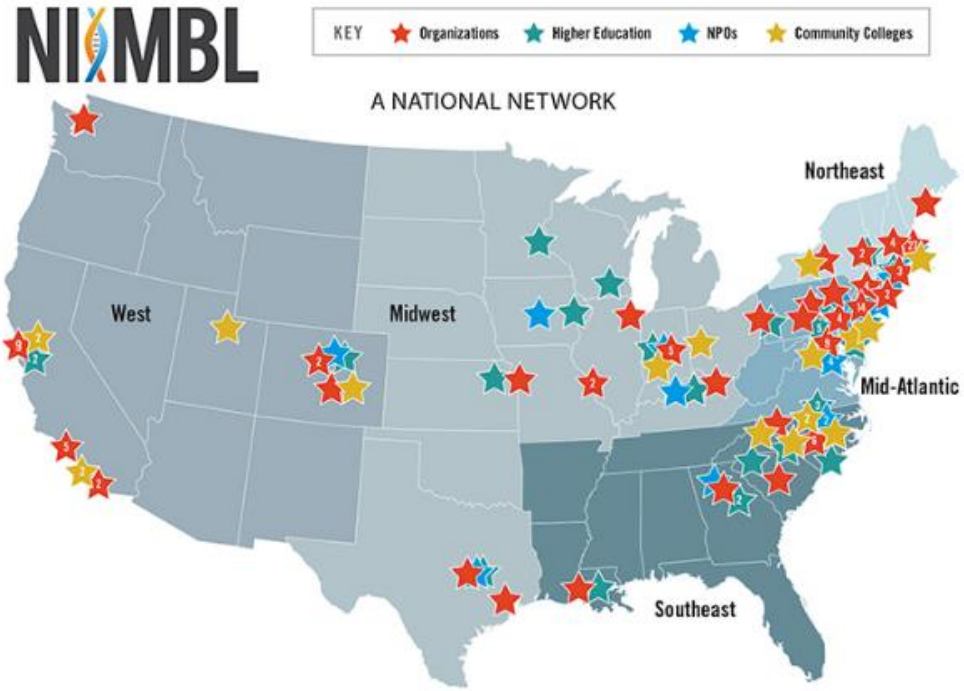
8.4.2 NIIMBL

デラウェア州ニューアークを拠点とするバイオ医薬品製造イノベーション研究所（National Institute for Innovation in Manufacturing Biopharmaceuticals: NIIMBL）は、Manufacturing USA から 2016 年 12 月 16 日に認定された。NIIMBL は、バイオ医薬品の製造におけるイノベーションを加速し、より効率的で迅速な製造プロセスの規格・標準化の促進、世界トップレベルの人材開発に注力し、米国のバイオ医薬品製造分野での競争力強化を目指している。商務省（DOC）が出資し、大手バイオ製薬会社や IBM などの 140 以上の企業、大学、非営利団体（NPO）、政府機関からなる産官学パートナーシップを進めている[600]。以下図表は NIIMBL に参加する機関の分布図で、赤い星が企業等の組織、緑の星が高等教育機関、青い星が非営利組織、黄色い星がコミュニティカレッジ（短期大学）を表している。

[596] https://www.manufacturing.gov/; https://www.manufacturingusa.com/about
[597] https://www.manufacturingusa.com/institutes; https://www.manufacturingusa.com/pages/how-we-work
[598] https://www.manufacturing.gov/nnmi/
[599] 同上、NNMI（Manufacturing USA）の成り立ちに関する日本語資料は下記が有用。
「米国オバマ政権における IT 政策の総括と時期トランプ政権の IT 政策の展望」（八山幸司　JETRO/IPA New York）：
https://www.ipa.go.jp/files/000056628.pdf
[600] http://www.niimbl.us/; https://www.nist.gov/news-events/events/2017/01/spotlight-biomanufacturing

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 85: NIIMBL メンバー機関分布図



出典:NIIMBL[601]

2017 年 1 月時点で既に多くの会員が参加表明をしているものの、正式に発足するのは 2017 年 3 月 1 日で、発足日に会員資格が発効され、運営のための委員会が設置される。また、迅速にバイオ製造をたちあげるための複数の「Quick Start Project」を発足させる。最初のプロジェクト募集は 2017 年第 4 四半期に行われる。官民による資金提供の割合は 1 対 2.5 となる[602]。

8.4.3 ATB-MII・ARMI

ニューハンプシャー州マンチェスターに拠点を構える、先進人工組織バイオファブリケーション製造イノベーション研究所(Advanced Tissue Biofabrication Manufacturing Innovation Institute: ATB-MII)は、人工組織のバイオファブリケーションに関わる 87 の営利・非営利団体、大学の研究機関、連邦・州政府機関からなるコンソーシアムで、国防総省(DOD)の出資で創設された。同コンソーシアムを主導するのは、先進再生医療製品製造研究所(Advanced Regenerative Manufacturing Institute: ARMI)で国防総省主導のコンペティションで選出された[603]。2016 年 12 月 21 日に Manufacturing USA 機関に認定された[604]。

[601] http://www.niimbl.us/
[602] 2017 年 1 月 13 日に NIST で開催されたバイオマニュファクチャリングイベントにおけるヒアリング情報より。
[603] https://www.defense.gov/News/Article/Article/1036945/dod-funds-new-tissue-biofabrication-manufacturing-consortium; https://www.dodmantech.com/Institutes/ATB-MII; https://www.defense.gov/News/News-Releases/News-Release-View/Article/1035759/dod-announces-award-of-new-advanced-tissue-biofabrication-manufacturing-innovation
[604] https://www.nist.gov/news-events/events/2017/01/spotlight-biomanufacturing

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

ATB-MII は、「組織工学」という用語を生み出した、1987 年創設の「省庁横断型組織工学科学（Multi-Agency Tissue Engineering Science: MATES）」に由来する。MATES は規制情報の交換を通じて省庁横断型のコミュニケーションを推進していたが、2007 年になると、細胞機構、バイオマーカー、試験方法、細胞と環境の相互作用、先進的な人工組織構築を研究課題の優先事項とする方針に傾き始めた。2016 年に国立標準技術研究所（National Institute of Standards and Technology: NIST）が「先進的な製造プロセス・技術」に関心を持ち始めた際、2007 年の戦略的目標を見直し、製造規模の拡大、バイオテクノロジー関連技術の商業化に重点的に取り組む決意を固めた。

ATB-MII 担当の連邦プログラムマネジャーである Kristy Pottol 氏によると、現在、同研究所が注力するのは戦闘中に負傷した兵士のリハビリテーション支援である。毎年 6 月に新製品を提供する目標を掲げており、そのためには製造インフラを拡充する必要がある。Pottol 氏の試算では、ATB-MII が取り組む主要な技術によって生まれる経済効果は、バイオプリンティングが今後 10 年間で 80 億ドル、医療機器が年間 30 億ドル、再生医療が年間 10 億ドルである。

ARMI は再現および規模拡大の可能な人工組織製造を阻む既存の障害を取り除くため、下記の 4 つの分野を「推進分野」に定めている。

- **細胞素材の選定と調達**：原材料、および細胞の生存性・同一性・清浄性の標準化と試験。
- **バイオファブリケーションのプラットフォームと自動化**：適切かつ有効なバイオファブリケーション設備を用い、標準化された出発物質を、新しい進化する組織や組織関連の最終製品に変える。
- **仕上げ加工および検査技術**：非破壊性の、あるいは最小限の破壊を伴う検査やセンサー、製造過程や出荷段階に合わせたリアルタイムの監視・検出技術。
- **プロトタイプ**：プロトタイプ組織の作製を可能にする、実績のある最先端人工細胞の一覧を構築・維持。

ARMI はプロセス設計にも重点的に取り組み、「クオリティ・バイ・デザイン（Quality by Design）」[605]を通じて、制御された拡張性のあるプロセスの開発にも注力する。具体的な技術開発プロジェクトの一つに、組織チップ技術の拡大がある。これは埋め込み可能な機器を使う技術で、組織内における薬剤の有効性を評価するために使われ、全身モデルのシステムへの展開が提案されている。Humacyte 社との共同研究により、細胞および移植片技術の開発が加速される予定である。移植用皮膚片の生産規模をバッチ当たり 10 片から 100～200 片に拡大する目標を掲げている[606]。

[605] FDA ガイドラインによると、Quality by Design とは、立証された科学及び品質リスクマネジメントに基づいて、事前の目標設定、製品及びプロセスの理解並びにプロセス管理に重点をおいた体系的な開発手法のことを意味する。従来のように設計または製品が完成してから品質を確認する手法とは異なる。
https://www.fda.gov/downloads/Drugs/.../Guidances/ucm073507.pdf
[606] 2017 年 1 月 13 日に NIST で開催されたバイオマニュファクチャリングイベントにおけるヒアリング情報より。

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

ARMI は、バイオテクノロジー産業内の課題について、使用する原料の不安定な品質、細胞組織製造業におけるスキルギャップ、先進的な組織工学技術の小規模な工業生産規模を挙げている。これらの課題に対して、バイオ医薬製品製造イノベーション研究所（NIIMBL）と同様、食品医薬品局（FDA）と協力して、規制および標準化プロセスの改善に取り組む予定である。また、インターネット上で STEM（科学・テクノロジー・工学・数学）指向の学生にスキル指導を提供し、コミュニティ・カレッジと協力して、学士号取得を希望しないものの製造分野や STEM 分野に興味のある学生を誘致することを計画している[607]。

8.5 再生医療クリニック

幹細胞を用いた再生医療は脳卒中や多発性硬化から、美容や火傷治療などにいたるまで幅広い分野で効果的であるとして期待を集めている。米国では 500 か所以上のクリニックにおいて幹細胞の注射が 5,000～2 万ドルで実施されている。こうしたクリニックのサービスは患者自身の脂肪から幹細胞を採取し、静脈に注射で戻すタイプが多く、細胞に対する加工も最小限（Minimum manipulation）であるため、FDA からの規制は少ない。従って、ほかの医療機器や医療薬のように、FDA の承認プロセスで示される治療の有効性が十分に証明されていない。事実、フェイスリフトを目的とした幹細胞注射後にまぶたに骨片が発生し、麻痺のために治療を受けた女性患者の脊椎に粘液を分泌する鼻腔組織が発生したケースがある。また、幹細胞注射後の死亡も 2 件確認されており、こういった医療事故が再生医療の安全性に対する懸念を高めている。幹細胞を用いた再生医療の研究を進める研究者らは、現在は治癒不可能な疾病も治癒する可能性がある反面、安全性確保を含めた適切な治療法の確立には時間がかかるとしており、多数の患者が、まだ実証されていない治療を求めて規制されていない利益重視のクリニックに駆け込むことに警鐘を鳴らしている[608]。

このような事態を受けて FDA は 2016 年 2 月、再生医療に使われる幹細胞を生物製剤と見なし、FDA 承認を必要とする旨の暫定ガイドラインを 4 本発表した。製薬業界や研究者の学会は、これらのガイドラインによって、今まで規制を受けていなかったクリニックに対してある程度の規制が整備されることを歓迎しているが、一部の批判的な意見には、厳格な規制が施行されたとしても慢性的に人員不足の FDA が何百ものクリニックの取締りを行えるのかを懸念している。FDA は当初、2016 年 4 月に一般市民・関係者から意見を集めるためのヒアリングを実施する予定であったが、何百名もがヒアリングでの発言を求めたため、ヒアリング開催を同年 9 月まで延期し、期間も 2 日間に延長する事態に至った[609]。公聴会では、大半の再生医療クリニックが細胞治療の成功例を取り上げながら厳格な FDA 規制に反対の意を示した。また、一部の科学者や医療関係者は副作用を懸念しながらも、実際に細胞治療を受けた多くの重症患者が治療後に生活の質（Quality of Life）が劇的に変化したとして規制反対派を後押した。しかし一方で、未承認の製品が医

[607] 2017 年 1 月 13 日に NIST で開催されたバイオマニュファクチャリングイベントのヒアリング情報より。
[608] https://www.statnews.com/2016/09/09/stem-cell-fda-hearing/
https://www.statnews.com/2016/02/08/fda-crackdown-stem-cell-clinics/
[609] https://www.statnews.com/2016/02/08/fda-crackdown-stem-cell-clinics/
https://www.statnews.com/2016/09/09/stem-cell-fda-hearing/
http://www.npr.org/sections/health-shots/2016/09/05/491372940/researchers-question-safety-value-of-untested-stem-cell-treatments

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

療現場又は市場に普及している現状に懸念を示す声もあり、特に、細胞製品が多く出回っている傷治療の分野では、どの製品も同じような効用をラベル化しているため、経験のある医師でも、どの製品が承認・未承認なのかを判別することが難しいと訴えていた[610]。

幹細胞を使った再生医療を巡る議論は連邦議会にも波及している。2016 年 3 月には、Mark Steven 元上院議員（イリノイ州選出共和党）が、健康福祉を増進する再生医療の選択肢の確実かつ効果的な成長法案（Reliable and Effective Growth for Regenerative Health Options that Improve Wellness: REGROW Act）を上程した。同法案では、日本が採用した略式承認を参考に、治療候補の有効性について問うことは殆どなく、最低限の安全性に関するデータのみで条件付承認を付与することで、臨床試験の必要性を軽減するものとなっている。承認を受けた治療については、承認後 6 年以内に安全性及び有効性を報告することが求められる。同法案は議会での審議が進むことはなかったが[611]、2015 年 1 月に上程された 21 世紀の治療法案（21st Century Cures Act）は、上院及び下院本会議の可決を経て、2016 年 12 月 13 日に法制化されている[612]。同法案では、再生医療について以下が定められている[613]。

- 成人幹細胞を用いた再生医療、癌研究、個別化医療イニシアチブ（Precision Medicine Initiative）、脳神経技術イノベーションを通した脳研究イニシアチブ（Brain Research Through Advancing Innovative Neurotechnologies Initiative）に対して、10 年間で国立衛生研究所（National Institutes of Health: NIH）に 48 億ドルを計上する。
- FDA に対して、再生医療を承認するための略式プロセスの設定を認める。
- 保健福祉省（HHS）長官がハイリスクと見なさない限り、再生医療に使用される機器を中程度のリスクに分類する。
- FDA に対して、再生医療のイノベーションを促進するべく、パブリックミーティングを実施してガイダンス及び規制を改訂することを義務付ける。
- FDA に対して、再生医療及び先端治療の標準設定や再生医療の開発・評価・レビューの支援において、国立標準技術研究所（National Institute of Standards and Technology: NIST）及びステークホルダーの助言を得ることを義務付ける。

21 世紀の治療法は政権交代直前に成立しており、FDA による再生医療の略式承認プロセスの設定やガイドライン・規制の改訂は、トランプ新政権の下で実施されることになる。規制緩和を重視するトランプ政権の下で具体的にどのような承認プロセスやガイドラインが制定されるかについては、今後の動向が注目される。

[610] http://www.jdsupra.com/legalnews/fda-convenes-two-day-public-hearing-on-68436/
パブリックコメントで提出された意見の内容の詳細は以下のリンクから参照できる。
https://www.regulations.gov/docketBrowser?rpp=50&po=0&dct=PS&D=FDA-2015-D-3719&refD=FDA-2015-D-3719-0018
[611] http://www.nature.com/news/fda-should-stand-firm-on-stem-cell-treatments-1.20208
https://www.congress.gov/bill/114th-congress/senate-bill/2689
[612] https://www.congress.gov/bill/114th-congress/house-bill/34
[613] https://rules.house.gov/sites/republicans.rules.house.gov/files/114/PDF/114-SAHR34-Sxs.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

8.6 自家調整検査（Laboratory Developed Test: LDT）

FDA は 2014 年 7 月、自家調整検査（Laboratory Developed Test: LDT）を体外診断機器と同様に規制するためのガイダンスの草案を発表した[614]。LDT は従来、メディケア・メディケイド・サービス・センター（CMS）が、1988 年臨床ラボ改善修正法（Clinical Laboratory Improvement Amendments of 1988）に基づいて規制している。この背景には、LDT は単一のラボで専有的に開発及び使用されており、承認プロセスを適用することで開発そのものが停滞する懸念があった。また、当初ラボが開発する LDT は、比較的簡易かつ研究での理解が進んでいる病理検査であったり、奇病の診断であったとしても同一施設内で医師が患者のために利用したりするものであった。FDA によると、当初の検査は、リスクの低い診断検査であるか、妥当性の証明が難しいものの、一部の患者のみに対して使用される奇病の診断検査であったという。しかし近年では、LDT はより複雑となり、FDA の承認が必要な診断機器との区別がつかないものも台頭してきている。特に FDA は、遺伝子検査などの多くの LDT が、オーダーメイド治療における臨床意思決定において重要な役割を果たすようになっており、誤診断や診断漏れ、ひいては治療の遅れや不適切な治療につながるリスクが高まっていることを懸念し、2014 年のガイダンスの作成に至っている[615]。

FDA が提案した規制ガイダンス下では、LDT のリスクに応じて規制の内容が異なる[616]。

A. 低リスク（Class I）の LTD と、奇病及び満たされていない需要に対応する LTD

①登録、②機器のリスティング、③有害事象の報告以外の規制義務からは免責される。これらの義務は、ガイダンスが最終化されてから 6 か月後に発効となる。

B. 中リスク（Class II）の LTD

低リスク LTD に課せられる義務に加え、ガイダンス最終化後 6 か月以内に有害事象の報告を始めなければならない。また、ガイダンス施行 5 年後から、市販前レビュー（510(k)申請）が必要となる。

C. 高リスク（Class III）の LTD

中リスク LTD と同様にガイダンス最終化後 6 か月以内に有害事象の報告を始めなければならない。また、ガイダンス施行 12 か月後から、市販前承認（Premarket Approval: PMA）が必要となる。

FDA のガイダンスに対しては、米国臨床ラボ協会（American Clinical Laboratory Association: ACLA）が早くから反対意見を示している。ACLA によると、LDT は機器ではなく、試薬と用品を用いた診断検査を実施する手順であり、1988 年臨床ラボ改善修正法によって規制されていることから、FDA に LDT を規制する権限はないという。Michael Burgess 下院議員（テキサス州選出共和党）も、CMS による規制との重複であり、イノベーションを停滞するほか、FDA における規制のために更なる税金を投入しなければならなくな

[614] http://www.fda.gov/downloads/MedicalDevices/ProductsandMedicalProcedures/InVitroDiagnostics/ucm407409.pdf
[615] http://www.raps.org/Regulatory-Focus/News/2014/08/01/19934/In-Major-Shift-FDA-to-Regulate-Lab-Developed-Tests-as-Normal-Devices/
[616] 同上

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

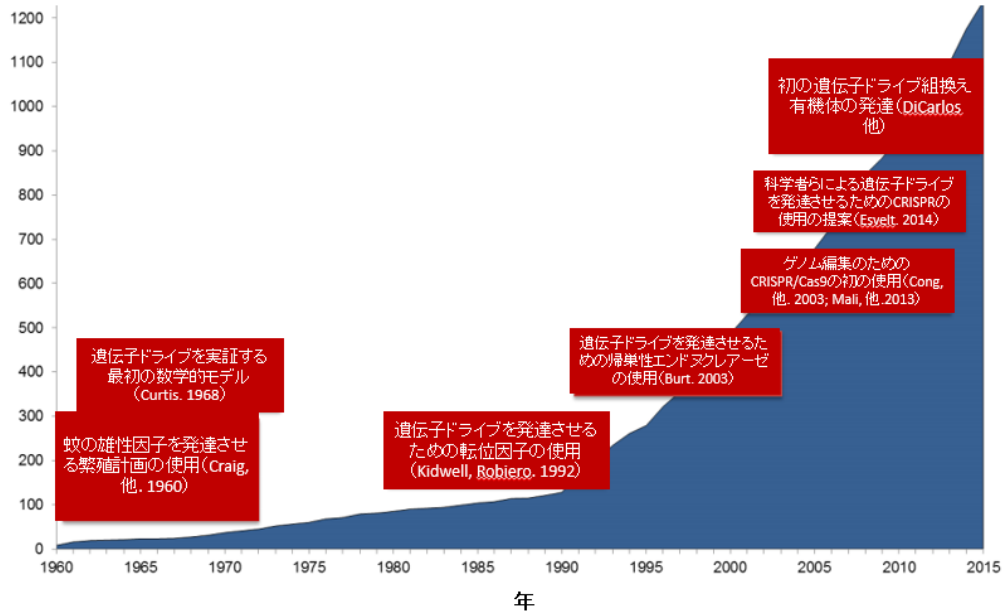
るとの懸念を示している。また、米国医師会（American Medical Association: AMA）も、FDA による規制には疑問と懸念があるとし、現在の LDT 規制枠組みによって、患者は安全かつ質の高い診断サービスを受けているとコメントしている[617]。

2015 年 1 月にはパブリックヒアリングも開催され、議論が続いていたが[618]、2016 年の大統領選挙後、FDA は、ガイダンスの最終化を新政権移行後まで延期するとの見解を発表している[619]。規制緩和を進めるトランプ政権の下での最終化の行方が注目される。

8.7 遺伝子ドライブ技術（Gene Drive）

2015 年以降、遺伝子ドライブ技術が急速な進展を遂げ、その有効性への期待が高まると共に懸念の声も上がっている。遺伝子ドライブとは、有性生殖生物において特定の性質を持つ遺伝子が次世代に優位的に遺伝し、当該性質が迅速に集団内に拡散する事象を指す。遺伝子ドライブ自体は自然現象であるが、これを利用して害獣や病原菌を持つ生物を制御することを目指した研究が長年にわたり実施されてきた[620]（下図表参照）。

図表 86: 遺伝子ドライブに関する累積論文件数（1960 年 - 2015 年）



出典：The National Academies of Science Engineering Medicine[621]

[617] http://www.raps.org/Regulatory-Focus/News/2014/08/01/19934/In-Major-Shift-FDA-to-Regulate-Lab-Developed-Tests-as-Normal-Devices/
[618] http://www.genomicslawreport.com/index.php/2015/01/22/groundhog-day-fda-and-proposed-oversight-of-ldts/
[619] http://www.raps.org/Regulatory-Focus/News/2016/11/18/26218/FDA-Delays-Finalization-of-Lab-Developed-Test-Draft-Regulations/
[620] http://www.sciencemag.org/news/2016/06/us-academies-give-cautious-go-head-gene-drive
http://nas-sites.org/gene-drives/
[621] http://nas-sites.org/gene-drives/files/2015/08/Gene-Drive_Briefing-Slides_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

通常の遺伝では、片親の染色体は一部の子にしか伝達しないため、特定の遺伝子が遺伝する可能性は50%となる。一方、遺伝子編集技術を用いると、同技術を持つ遺伝子が他方の親の染色体の標的配列を切断して自身の配列をコピーすることで、自身の特性をほぼ 100%遺伝させることが可能となる[622]。

遺伝子ドライブの用途は、上述の公衆衛生に留まらず、生態系保全や農業、基礎研究など幅広い分野での有効性が期待されている[623]。

- **公衆衛生**:デング熱やマラリアなどの病原菌を持つ害獣を制御・改変する。
- **生態系保全**:絶滅危惧種を脅かす生物(外来種や感染症病原菌を持つ生物など)を制御・改変する。
- **農業**:穀物に損害を与える生物を制御・改変し、雑草を全滅させる。
- **基礎研究**:遺伝子ドライブの機能・効果や、種生物学、疾病メカニズムなどの研究において、改変した生物を利用する。

2014 年に開催された国連の生物多様性会議(Convention on Biodiversity)では、遺伝子ドライブはまだ理論的な概念であったが、2015 年に入り、クリスパー(CRISPR)[624]と呼ばれる遺伝子編集技術によって、酵母菌、ミバエ、蚊の集団において特定の遺伝子をほぼ 100%伝達することが出来るとの概念実証論文が数本発表されている。これを契機に、遺伝子ドライブの安全な実験方法に関する議論が起こり、国防省国防高等研究事業局(Defense Advanced Research Projects Agency: DARPA)やビル&メリンダ・ゲイツ財団(Bill & Melinda Gates Foundation)の後援を受け、全米科学・工学・医学アカデミーズ(National Academies of Sciences, Engineering, and Medicine)が遺伝子ドライブに関する研究を実施するに至っている[625]。

上記の研究結果、全米科学・工学・医学アカデミーズは、2016 年 6 月、「台頭する遺伝子ドライブ:科学を進展させ、不確実性を乗り切り、公共社会と学界の価値観をすり合わせるには(Gene Drives on the Horizon: Advancing Science, Navigating Uncertainty and Aligning Research with Public Values)」と題した報告書を発表した。この報告書の中で、全米科学・工学・医学アカデミーズは、現時点では遺伝子ドライブを操作した生物を環境に放出することを支持するだけの科学的証拠は不十分であるとしながらも、遺伝子ドライブがもたらす可能性のある恩恵は多大であり、ラボ及び厳密に管理された環境下での研究は正当化されると結論付けている[626]。

---

[622] http://www.economist.com/news/briefing/21661801-giving-bits-dna-power-edit-themselves-intriguing-and-worrying-possibility

[623] National Academies of Sciences, Engineering, and Medicine. “Gene Drives on the Horizon: Advancing Science, Navigating Uncertainty and Aligning Research with Public Values”. June 8, 2016. 以下からダウンロード可能。http://www.nap.edu/catalog/23405/gene-drives-on-the-horizon-advancing-science-navigating-uncertainty-and
下記よりレポートの一部を参照することが可能。http://nas-sites.org/gene-drives/files/2015/08/Gene-Drives-Brief06.pdf

[624] バクテリア DNA の一部で、Cas9 のようなガイドプロテインと組み合わせると、生物の遺伝子から特定の部分を切断することができる。http://nas-sites.org/gene-drives/

[625] http://www.sciencemag.org/news/2016/06/us-academies-give-cautious-go-head-gene-drive
http://www.nature.com/news/gene-drive-moratorium-shot-down-at-un-biodiversity-meeting-1.21216

[626] http://nas-sites.org/gene-drives/files/2015/08/Gene-Drive_Briefing-Slides_Final.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

遺伝子ドライブへの期待が高まる一方、安全性へ懸念も強まっている。マサチューセッツ工科大学（Massachusetts Institute of Technology: MIT）研究者が率いた研究によると、約 15 年後には、遺伝子ドライブ操作された生物がラボの管理下をすり抜けて全世界的に広がる「バイオエラー」が発生すると予測されている。DARPA は、2016 年 9 月、遺伝子ドライブ技術がもたらすリスクに対応することを目的としたセーフジーンズ（Safe Genes）プログラムを設立した。今後 4 年間にわたり、①生体システム内の遺伝子エディターを空間的かつ、暫定的そして可逆的な制御を可能する遺伝子構造を開発する、②生体の遺伝子編集を防止または抑制する予防及び対処措置となる新規小分子を開発する、③意図しない操作済み遺伝子を環境から除去し、遺伝子を元の状態に回復させるための機能を開発することを目標とした研究開発を支援することになっている[627]。

National Academies of Sciences, Engineering, and Medicine. “Gene Drives on the Horizon: Advancing Science, Navigating Uncertainty and Aligning Research with Public Values”. June 8, 2016. 以下からダウンロード可能。
http://www.nap.edu/catalog/23405/gene-drives-on-the-horizon-advancing-science-navigating-uncertainty-and

[627] http://www.darpa.mil/news-events/2016-09-07 ;,https://www.scientificamerican.com/article/u-s-military-preps-for-gene-drives-run-amok/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

9　バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）の動静

本章では、最大のバイオテクノロジー産業のロビー団体であるバイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）の、バイオテクノロジー分野における現体制、近年のロビー活動、キャンペーンなどを取り上げる。

9.1　バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）概要

世界最大のバイオ産業ロビー団体であるバイオテクノロジーイノベーション協会（Biotechnology Innovation Organization: BIO）は 、バイオテクノロジー産業協会（Biotechnology Industry Organization: BIO）として 1993 年 7 月に米国で設立された。現在は、同国をはじめ 30 か国以上の国々の大手多国籍バイオテクノロジー企業および新興バイオテクノロジー企業、学術機関、地方のバイオテクノロジー産業協会、バイオテクノロジー産業へのサービス提供事業者、地方政府のバイオテクノロジー関連部門等を会員に抱え[628]、その数は設立当時の 350 から 1,100 以上[629]に膨らんでいる。会員の事業・研究分野は、医療、農業、工業・環境分野にわたる。

図表 87: BIO International Convention のイベント会場の様子

出典：BIO[630]

同協会は、設立当初から毎年、セミナー、交流イベント、ビジネスマッチングイベント、展示会で構成される約 1 週間の世界最大のバイオテクノロジー産業の最大のイベントである「BIO International Convention」

628 https://www.bio.org/about
629 https://www.bio.org/bio-initiatives; https://www.bio.org/biography/james-c-greenwood; https://www.bio.org/biography/brent-erickson; https://www.bio.org/about-bio-membership
630 http://convention.bio.org/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

を米国の主要都市で開催している。1 万 6,000 人の参加者のうち 3 分の 1 が米国外から参加しており、2,500 人以上の大手バイオテクノロジー企業の CEO が一堂に会する[631]。過去にはジョージ・W・ブッシュ元大統領、ビル・クリントン元大統領、トニー・ブレア元英国首相、俳優のマイケル・J・フォックスなどを基調講演に迎えており、2017 年の基調講演はデイビッド・キャメロン前英国首相を予定している[632,633]。BIO は、他にも世界各地で投資家説明会やビジネスマッチングイベント等を開催している。2013 年にはバイオ分野の求職者と人材募集中の企業を引き合わせるサービス「Bio Jobs[634]」を開始した。また、会員の数の利がもたらす購買力を活かし、グループ割引を通じた経費削減プログラム「BIO Business Solutions」を運営しており、既に 3,000 社を超える企業が総額 3 億 1,500 万ドルの経費削減を実現した[635,636]。

バイオテクノロジー産業を代表し、その振興を促進するため、BIO は会員ごとに異なる規模や事業・研究分野を反映した「新興企業」、「医療」、「工業・環境」、「食品・農業」の 4 部門に分かれて政策提言を行っている[637]。この 4 部門に加え、「知的財産」、「公共政策」、「生命倫理」、「国際政策」を活動の重点分野に掲げている[638]。また、会員は各種「政策委員会（Policy Committee）」に所属することで、BIO の政策提言や広報活動の内容の策定に関わることができる。政策委員会では特に、「医療政策」、「ワクチン政策」、「規制関連」、「政府関係」、「法律・知的財産問題」、「人事」、「個別化医療・診断」、「保険償還」、「コミュニケーション」、「財務・税制改革」、「国際的な政策提言」、「技術移転」、「協力団体の開拓」、「食品・農業政策、「工業バイオテクノロジー」などを扱っている[639]。BIO はさらに、政策提言活動の一環として、医療制度の強化」、「21 世紀型の治療および製薬・薬物送達のアプローチ」、「国立衛生研究所（NIH）の支援」をはじめ、複数の「BIO イニシアチブ」を発足させている[640]。

BIO は 2016 年 1 月、会員による革新的な技術開発を前面に打ち出すため、「バイオテクノロジー産業協会（BIO）」から「バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）」に改称した[641]。2017 年 1 月現在、BIO のプレジデント兼 CEO を務める James C. Greenwood 氏は、2005 年から現職で、就任以来、BIO の予算と職員を 50%近く増強してきた[642]。前職は連邦下院議員で 12 年の任期を務めた。その他の幹部は下記の通りである[643]。

- **トム・ディレンジ**（Tom DiLenge）政策提言・法律・公共政策部門担当プレジデント（President, Advocacy, Law & Public Policy

ジェームズ・C・グリーンウッド
BIO プレジデント兼 CEO

631 http://convention.bio.org/attend/
632 http://convention.bio.org/about-bio-convention/
633 http://convention.bio.org/program/
634 http://jobs.bio.org/
635 https://www.bio.org/about#
636 http://bbs.bio.org/about
637 https://www.bio.org/about
638 https://www.bio.org/bio-areas-focus
639 https://www.bio.org/policy-committees
640 https://www.bio.org/bio-initiatives
641 https://www.bio.org/media/press-release/biotechnology-industry-organization-cha innovation-organi
642 https://www.bio.org/biography/james-c-greenwood
643 https://www.bio.org/senior-staff-bio

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

Division）：2016 年から現職。2005 年から BIO で法務関連の要職を歴任。以前は連邦下院議会の委員会で法務顧問などを務めた[644]。

- **ジョアン・M・ダンカン**（Joanne M. Duncan）会員・業務運営部門担当（President, Membership and Business Operations Division）：2011 年から BIO 在籍、20016 年から現職。BIO 以前はクレジットユニオンや健康保険等の事業者団体で CFO を務めた[645]。
- **ダン・ダーハム**（Dan Durham）医療政策部門担当エグゼクティブ・バイスプレジデント（Executive Vice President, Health Policy）：2016 年から現職。それ以前は米国健康保険協会（AHIP）、米国研究製薬工業協会（PhRMA）などで政策提言・規制問題に携ってきた[646,647]。
- **ブレント・エリクソン**（Brent Erickson）工業・環境部門担当エグゼクティブ・バイスプレジデント（Executive Vice President, Industrial & Environmental）：2005 年から現職。米国石油協会（API）、経済協力開発機構（OECD）バイオテクノロジー関連タスクフォースなどで幹部職を歴任[648]。
- **カルティエ・エシャム**（Cartier Esham）新興企業部門担当エグゼクティブ・バイスプレシデント（Executive Vice President, Emerging Companies）：2013 年から現職[649]。前職は民間コンサルティング会社の調査部門ディレクター。環境、科学、テクノロジー、医療などの分野を担当[650]。
- **ジョセフ・ダモンド**（Joseph Damond）国際部門担当シニア・バイスプレジデント（Senior Vice President, International Affairs）：2011 年から現職。BIO 以前は大手製薬会社の政府関係部門、PhRMA の国際部門で幹部職を務めた他、通商代表部に 12 年在籍[651,652]。
- **ジーン・ハガティー**（Jeanne Haggerty）連邦政府関係担当シニア・バイスプレジデント（Senior Vice President, Federal Government Relations）：2006 年から BIO に在籍、2015 年から現職。BIO 以前は連邦下院議会エネルギー商業委員会の専門スタッフ[653]。
- **ケイ・ホルコム**（Kay Holcombe）科学政策担当シニア・バイスプレジデント（Senior Vice President, Science Policy）：2014 年から現職。それ以前は大手製薬会社数社で連邦機関・政府関係部門の幹部職を務めた[654,655]。
- **ケン・リサイアス**（Ken Lisaius）コミュニケーション担当シニア・バイスプレジデント（Senior Vice President, Communications）：2011 年から BIO に在籍、2013 年から現職。BIO 以前は上級広報コンサルタント。大企業、産業協会、連邦議員、大統領の顧問を務めた[656,657]。

644 https://www.bio.org/biography/tom-dilenge
645 https://www.bio.org/biography/joanne-m-duncan
646 https://www.bio.org/biography/dan-durham
647 https://www.bio.org/media/press-release/bio-announces-appointment-dan-durham-lead-health-policy-section
648 https://www.bio.org/biography/brent-erickson
649 https://www.linkedin.com/in/cartier-esham-16246b7
650 https://www.bio.org/biography/cartier-esham
651 https://www.bio.org/media/press-release/bio-announces-joseph-damond-new-senior-vice-president-international-affairs
652 https://www.bio.org/biography/joseph-damond
653 https://www.bio.org/biography/jeanne-haggerty
654 https://www.bio.org/media/press-release/bio-announces-kay-holcombe-join-senior-vice-president-science-policy
655 https://www.bio.org/biography/kay-holcombe
656 https://www.bio.org/biography/ken-lisaius
657 https://www.bio.org/media/press-release/ken-lisaius-named-bios-vice-president-communications

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

- **イヴェット・ホワイト＝ウィギンズ**（Yvette White-Wiggins）シニア・バイスプレジデント兼 CFO（Senior Vice President and Chief Financial Officer）：2002 年から BIO 在籍、2016 年から現職。BIO 以前は国務省職員向けレクリエーション機関の経理担当ディレクター[658]。

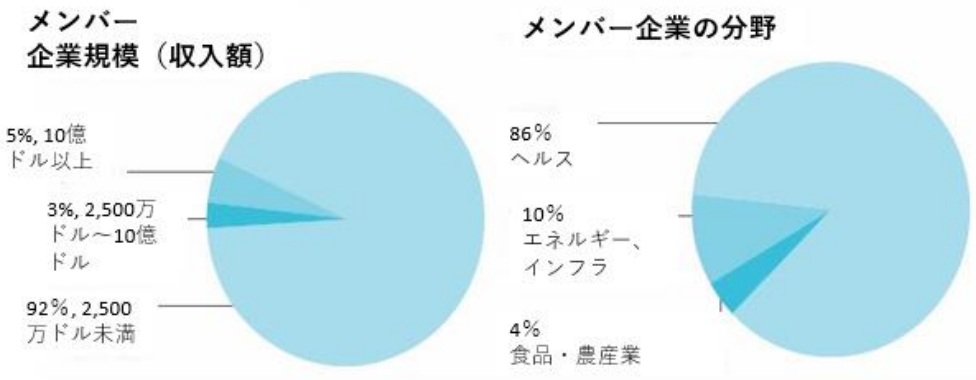
BIO の幹部の中でも、医療政策部門担当エグゼクティブ・バイスプレジデント（Executive Vice President, Health Policy）を勤めている Dan Durham 氏が注目に値する。Dan Durham 氏は、AHIP と米国最大の製薬産業事業者団体 PhRMA で政策担当バイスプレジデントを務め、保険福祉省および社会保障局でも幹部職を務めた。ダーハム氏の就任は、BIO の製薬・保険関連の公共政策への注力を示唆している。

製薬と保険のいずれも、BIO がこの 2 年間に亘って活発なロビー活動を展開している分野で、メディケアのパート B およびパート D の拡充、21 世紀の治療法に対する後押し、改革法（Innovation Act）への反対がその例である。なお、BIO にはその運営を監督する「執行委員会（Executive Committee）」が設置されている他、「新興企業」、「医療」、「工業・環境」、「食品・農業」の 4 つの政策提言部門別に「部門運営理事会（Section Governing Board）」も設置されている。2017 年 1 月現在の執行委員会および部門運営理事会は、いずれも企業会員の会長、社長、最高責任者で構成されている[659]。以下図表にあるように、BIO の 1,100 以上の会員のうち、研究開発型企業会員の約 90%が収益 2500 万ドル未満の中小企業であり、主な事業分野の割合は医療が 86%、工業・環境が 10%、食品・農業が 4%である[660]。

[658] https://www.bio.org/biography/yvette-white-wiggins
[659] https://www.bio.org/executive-committee-governing-boards
[660] https://www.bio.org/about-bio-membership

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 88: バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）メンバーの企業規模および事業分野（2017 年 1 月時点）



出典：BIO[661]

BIO の職員数および予算は、2017 年現在、公表されていない模様である。2005 年時点では職員数が 100 名で予算 4,000 万ドルと推定され、どちらも Greenwood 氏のプレジデント兼 CEO の就任以降、50%近く増強されているとのことから[662]、現在、職員数が約 150 名で予算約 6,000 万ドルと推測できる。

9.2 現在、取り組んでいる案件

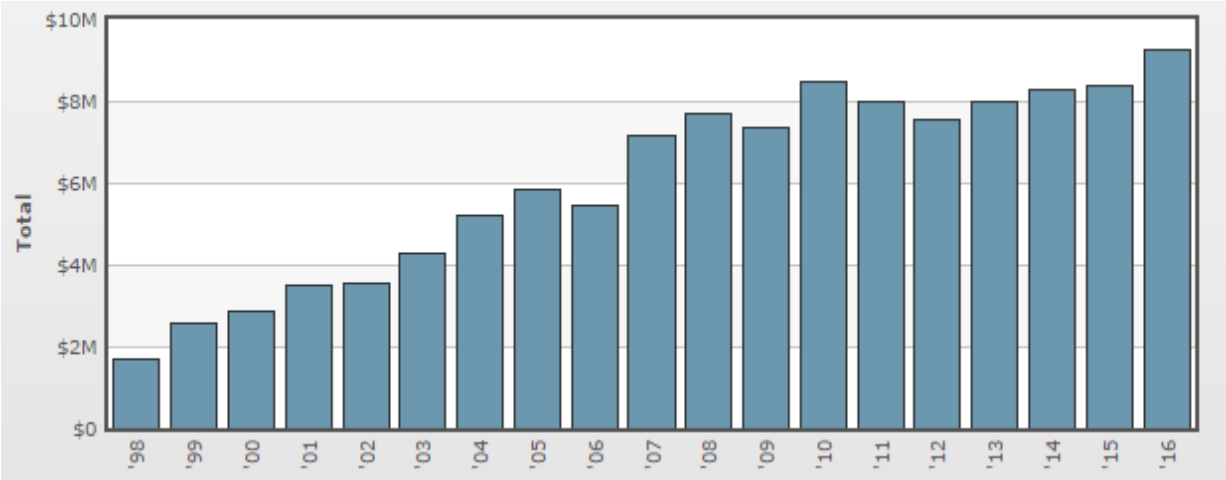
9.2.1 最近のロビー活動の概要

BIO は 2016 年、前年 2015 年の 835 万ドルを上回る 920 万ドルをロビー活動に投じた。BIO のロビー活動費は 2012 年以降、着実に上昇しているが、2016 年の上昇幅はこの間の最大となっている[663]。連邦議会による「21 世紀の治療法」の最終投票が迫っていた 2016 年の第 4 四半期には、前年の 210 万ドルを上回る 230 万ドルを同法へのロビー活動に投じた[664]。

[661] 同上
[662] https://www.bio.org/biography/james-c-greenwood
[663] https://www.opensecrets.org/lobby/clientsum.php?id=D000024369&year=2016
[664] http://www.rollcall.com/news/policy/drug-industry-spending-jumped-cures-crossed-finish-line

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 89: BIO ロビー活動額推移（1998 年 - 2016 年）



出典：OpenSecrets.org[665]

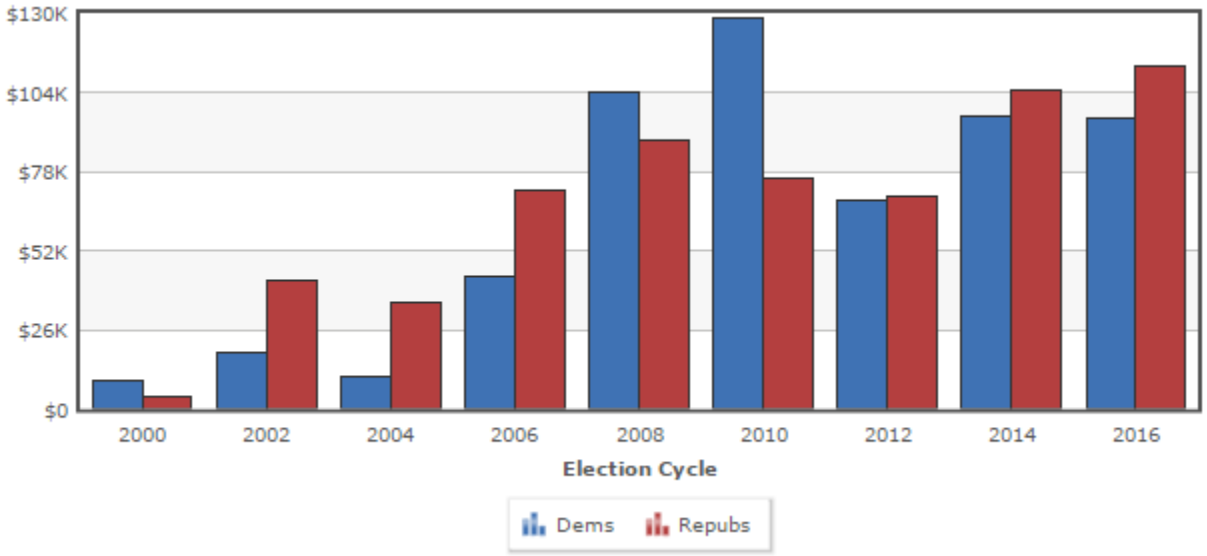
2016 年の米大統領選挙中、BIO は 28 万 8487 ドルの政治献金を行った[666]。これは 2014 年の中間選挙の 27 万 3,997 ドルを上回る[667]。BIO は、特定の政党に限らず、会員およびバイオテクノロジー産業全体に重要な問題において BIO の立場を支持する候補者に献金をする、政治活動委員会（Political Action Committee: PAC）「BIO PAC」を組織している[668]。この BIO PAC を通じて 2016 年の選挙中に BIO が連邦議会の候補者に行った政治献金額は 20 万 8,250 ドルで、その内訳は 46%が民主党候補、54%が共和党候補だった[669]。前回の 2014 年の中間選挙中の献金額は 20 万 750 ドルで、内訳は民主党候補 48%、共和党候補 52%だった[670]。

[665] https://www.opensecrets.org/lobby/clientsum.php?id=D000024369&year=2016
[666] https://www.opensecrets.org/orgs/summary.php?id=D000024369&cycle=2016
[667] https://www.opensecrets.org/orgs/summary.php?id=D000024369&cycle=2014
[668] https://www.bio.org/bio-pac
[669] https://www.opensecrets.org/pacs/lookup2.php?cycle=2016&strID=C00355677
[670] https://www.opensecrets.org/pacs/lookup2.php?strID=C00355677&cycle=2014

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

図表 90: 政党別 BIO の献金額の推移(2000 年 - 2016 年)

(青:民主党、赤:共和党)



出典:OpenSecrets.org[671]

9.2.2 21 世紀治療法と PATENT 法

オバマ前米大統領が 2016 年 12 月に署名した「21 世紀の治療法(21st Century Cures Act)」は、BIO が 2016 年に最も活発にロビー活動を行い、支持した法案である[672]。また、BIO が 21 世紀の治療法に次いで活発にロビー活動を行った法案は、特許関連法案の「Protecting American Talent and Entrepreneurship Act(PATENT 法)」で、中小企業の特許が充分に保護されないという理由から反対した[673]。

BIO の Greenwood CEO は 2015 年 1 月、下院エネルギー商業委員会による「21 世紀の治療法」法案の討議草案の発表を称賛し、BIO が起草者に対して行った複数の政策提言が草案に盛り込まれていると語った[674]。臨床試験の"近代化"など、一部の提言は法案の議会通過により制定された。また、BIO のケイ・ホルコム氏(科学政策担当バイスプレジデント)も 2016 年 1 月、BIO が「21 世紀の治療法」の様々な条項を提案してきたと語った[675]。

[671] https://www.opensecrets.org/pacs/lookup2.php?strID=C00355677
[672] https://www.opensecrets.org/lobby/clientbills.php?id=D000024369&year=2016
[673] 同上、https://www.bio.org/media/press-release/statement-regarding-introduction-senate-patent-reform-legislation
[674] https://www.bio.org/media/press-release/bio-praises-release-21st-century-cures-initiative-discussion-draft
[675] https://www.bna.com/drug-prices-user-n57982066125/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

9.2.3 メディケア償還システムへの反発

2010 年の ACA（オバマケア）の成立以降、米国の社会保障制度は従来の「Fee-for-Service」と呼ばれる量的償還制度から、「Pay-for-Performance」と呼ばれる医療の質を重視する制度へと大きな転換点を迎えている。米国の社会保障制度を管理するメディケア・メディケイドセンター（The Centers for Medicare & Medicaid Services: CMS）によると、医療の質を重視する保険制度への転換は患者の医療費負担の無駄を省き、同時に医療機関が提供するサービスの質を向上することに繋がるとされている[676]。この転換に伴い、CMS は医療の質を向上させるために治療や院内感染などに関するデータの提出を医療機関に義務付け、そのデータを基に医療の質を判断する指標を設け、それに基づいて医療機関を評価するシステムを構築している[677]。

CMS は、量ではなく質に価値を置いて経済的なインセンティブを与える償還方式（Value-Based Program）への転換の一環として、高齢者向け公的医療保険であるメディケアのうち、外来診療などに適用されるパート B の保障対象である処方箋薬について、新しい償還モデルの導入を提唱している。安価な医薬品ほど償還率が高くなる仕組みで、高価な医薬品になるほど償還額が現行より大幅に減少する。有効性が同じであれば安価な医薬品を投与するインセンティブを医療提供者に与え、高価な医薬品の投与、引いては薬剤費を抑制することが狙いだが、安価な代替薬が少ない癌医療を専門とする病院や小規模の医療プロバイダーへの打撃となる他、患者にとっては医薬品や新たな治療法へのアクセスが制限されるといった弊害が懸念されている[678,679]。

CMS は 2016 年 3 月、この新しい償還モデルを提唱すると同時に、その実験的な導入を提案した[680]。かかりつけ医、高齢者を代表する消費者団体、一部の経済学者は計画の実施を求めているが、専門医、製薬企業、一部の患者団体は計画の中止を求めており、BIO は米国研究製薬工業協会（PhRMA）とともに、反対派の先頭に立っている[681]。BIO は CMS に実験的な導入を定めた規則案の取り消しを求める文書を送付し、メディケアを利用する患者に投与する特定の医薬品を医療機関が入手しにくくなると主張している[682]。BIO の会員が手がける医薬品の多くは新薬で高価であるため、特定の医薬品の投与に対する医療機関への償還額を制限しようとする動きは阻止したいところである。メディケア・メディケイドの問題は、BIO が 2016 年に最も活発にロビー活動を行った分野であり、償還ルールの改正問題に何十万ドルものロビー活動費を費やしている[683]。

---

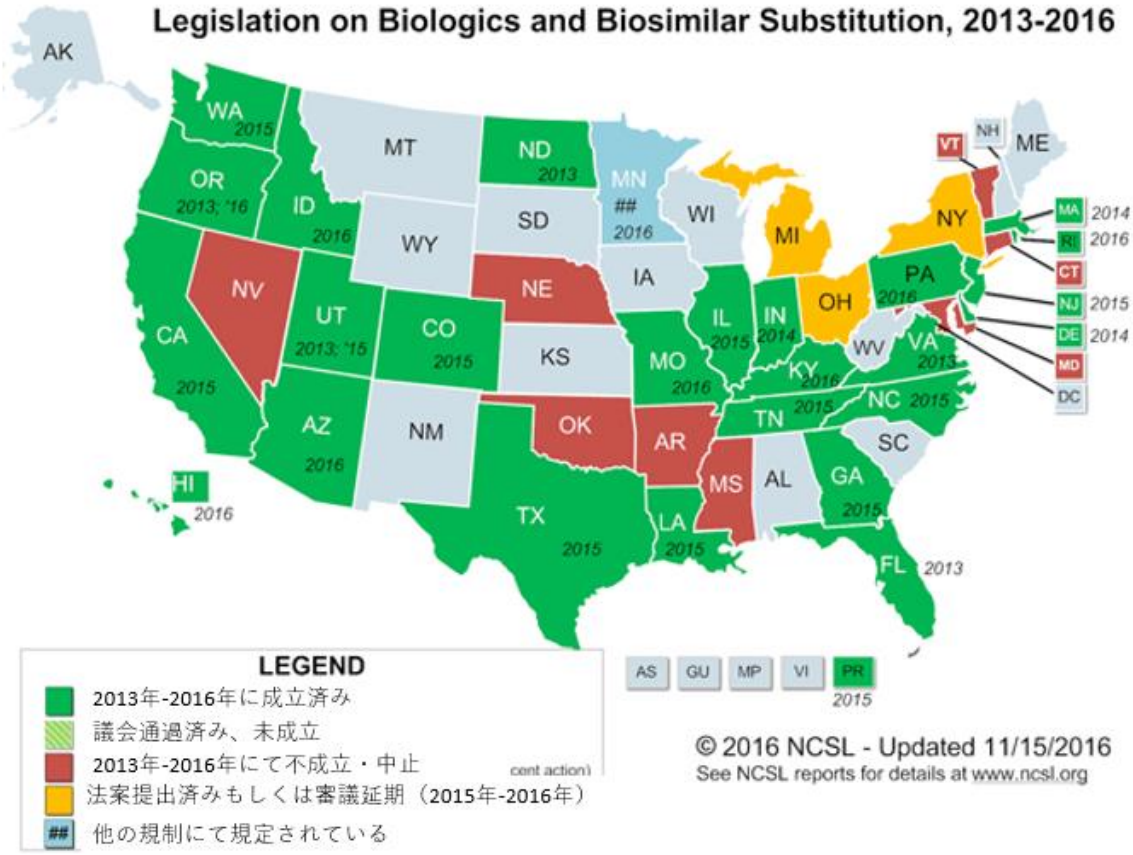
[676] https://www.cms.gov/Medicare/Quality-Initiatives-Patient-Assessment-Instruments/hospital-value-based-purchasing/index.html?redirect=/Hospital-Value-Based-Purchasing
[677] https://www.cms.gov/Medicare/Quality-Initiatives-Patient-Assessment-Instruments/Value-Based-Programs/HVBP/Hospital-Value-Based-Purchasing.html
[678] https://www.advisory.com/research/market-innovation-center/the-growth-channel/2016/11/medicare-part-b
[679] http://bigstory.ap.org/article/6367d4c1ec904d12bac7fdb50e1ecf19/medicare-payment-plan-cancer-drugs-sparks-furious-battle
[680] https://www.cms.gov/Newsroom/MediaReleaseDatabase/Press-releases/2016-Press-releases-items/2016-03-08.html
[681] http://bigstory.ap.org/article/6367d4c1ec904d12bac7fdb50e1ecf19/medicare-payment-plan-cancer-drugs-sparks-furious-battle
[682] https://www.bio.org/media/press-release/bio-statement-proposed-part-b-drug-payment-model
[683] https://www.opensecrets.org/lobby/clientissues.php?id=D000024369&year=2016

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

9.2.4 州政府に対するバイオシミラー承認法へのロビー

BIO は、各州政府・議会に対し、食品医薬品局（Food and Drug Administration：FDA）が承認したバイオシミラーを先発バイオ医薬品の代替薬として使用することを認める州法の整備を呼びかけている[684]。例えばジョージア州では、2015 年 3 月に地元のバイオテクノロジー産業協会と協力し、州議会を通過した該当法案の署名をディール知事に働きかけており[685]、同知事は同年 5 月、この法案に署名し成立させている[686]。2016 年 11 月 15 日時点、25 の州とプエルトリコでこのような州法が制定されており[687]、BIO はその多くでロビー活動を展開していた。以下図表は、この州法の成立状況を地図に示しており、緑色の州で既に州法として成立している。

図表 91：州別バイオシミラー承認法成立状況（2013 年 - 2016 年）



出典：NCSL[688]

[684] https://www.bio.org/advocacy/letters/bio-principles-patient-safety-substitution-biologic-products
[685] https://www.bio.org/media/press-release/bio-urges-governor-deal-sign-bill-ensures-patient-access-interchangeable-biologi
[686] 同上
[687] http://www.ncsl.org/research/health/state-laws-and-legislation-related-to-biologic-medications-and-substitution-of-biosimilars.aspx
[688] http://www.ncsl.org/research/health/state-laws-and-legislation-related-to-biologic-medications-and-substitution-of-biosimilars.aspx

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

9.2.5 特許改革法案に対する反応

特許改革法案である「改革法（Innovation Act）」は、製品開発などで実際に使用するためではなく、他社にライセンス料や賠償金を要求するために第三者から特許を買い集める「パテント・トロール」に対抗する法案である。2013 年に Bob Goodlatte 共和党下院議員によって下院に提出され、同院を通過したものの上院で否決された。Goodlatte 議員は 2015 年、再度議会に同法案を提出した[689,690]。しかしながら、BIO は同法案に反対し、新興バイオテクノロジー企業の特許を充分に保護しておらず、知的財産権を迅速かつ効率的に保護しようとする革新的な新興企業や小企業に、理不尽なハードルを課すことになるとして、ロビー活動に 6 万ドル以上を費やした[691]。その結果、改革法は成立せず、BIO 側の主張が通った。なお、Amgen 社などの BIO 会員の大手バイオ製薬企業も、法案成立を阻止するためのロビー活動を行っていた。

また、上院では Protecting American Talent and Entrepreneurship Act（PATENT 法案）が司法委員会（Judiciary Committee）を通過した。下院の Innovation Act に対応する法案で、同じく訴状基準の厳格化、ディスカバリー手続きの制限、弁護士費用の敗訴者負担などを提案しているが、各条項の内容は異なる[692]。PATENT 法案に対して、BIO は「特許商標庁（Patent and Trademark Office: PTO）の当事者レビュー（Inter Partes Revie: IPR）および付与後レビュー（Post Grant Review: PGR）手続きに関する必要な修正を盛り込んだ上院司法委員会の取組みを歓迎すると声明を発表した。これらの手続きは従来、「特許所有者に対する基本的な公平性を欠いているという我々の懸念に応じた措置だと受け止めている」と発表した[693]

9.3 その他キャンペーン活動

9.3.1 「Innovation Saves」キャンペーン

BIO は 2016 年 9 月、「Innovation Saves」と銘打った TV 広告キャンペーンを数週間にわたって実施し、専用のウェブサイトを開設した。これらの宣伝媒体には「バイオ医薬品分野のイノベーションは患者の命を救い、医療費を削減する」というメッセージが打ち出された[694,695]。広告の内容は、癌のような命に関わる疾病に対する新しい治療法の開発の重要性を強調するものであったが、その根底にあったのは、FDA 承認取得に伴う制約と負担、その他の製薬産業を取り巻く規制は回避されるべきであるという主張だった。

[689] http://www.forbes.com/sites/econostats/2015/05/29/who-are-patent-trolls-and-what-will-h-r-9-do-about-them/#467a82df1d97
[690] https://www.eff.org/deeplinks/2015/02/innovation-act-back-lets-finally-put-stop-patent-trolls
[691] https://www.bio.org/media/press-release/bio-opposes-hr-9-innovation-act; https://soprweb.senate.gov/index.cfm?event=getFilingDetails&filingID=6B59EE56-53D2-4601-9D15-2C144303E3FB&filingTypeID=69
[692] http://www.ipwatchdog.com/2015/05/27/the-ups-and-downs-of-the-innovation-act-of-2015/id=58075/
[693] https://www.bio.org/media/press-release/bio-statement-senate-judiciary-committee-passage-patent-act
[694] https://www.bio.org/press-release/bio-launches-%E2%80%9Cinnovation-saves%E2%80%9D-ad-highlight-value-biopharmaceutical-innovation
[695] http://innovationsaves.life/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

BIO が 100 万ドルから 500 万ドルの費用を投じて Innovation Saves を実施した背景には、医薬品価格の操作で非難を浴びた Mylan 社や Turing Pharmaceuticals 社といった製薬企業から距離を置こうとする狙いがある。同 CEO は同時に、保険会社が自己負担額をつり上げていると批判している[696]。また、2016 年 5 月には BIO 会員の Pfizer 社が別の広告キャンペーンを実施し、医薬品の研究開発を迅速化させる必要性を訴えている[697]。

9.3.2 NIH や NSF との活動

BIO は 2016 年の BIO International Convention で、国立衛生研究所（NIH）および全米科学財団（NSF）と共同で、会場に「BIO イノベーション・ゾーン」を設置し、NIH の「中小企業技術革新研究プログラム（Small Business Innovation Research: SBIR）」から助成を受けている企業に展示スペースを提供した。SBIR は、商品化の可能性が高い研究開発を行っている中小企業に資金を給付するプログラムである。「BIO イノベーション・ゾーン」で展示を行った企業の大部分は、臨床試験を含むフェーズ II として SBIR から最大 100 万ドルの助成金が提供されていた[698]。

9.3.3 メンバー間ネットワークの促進

BIO は、2015 年 5 月から事業者向けネットワーキング・ソフトウェア、「ワン・オン・ワン・パートナーリング（One-on-One Partnering）」を導入している。このソフトを利用し、毎年 5 万件のビジネスマッチング・ミーティングを設定し、BIO が主催する各種会議で投資家や企業、研究機関から患者団体に至る様々なステークホルダーの面談を仲介している[699]。また、BIO は 2016 年で 15 回目を迎えた年次の「投資家フォーラム（BIO Investor Forum）」を開催しており、同フォーラムでの「ワン・オン・ワン・パートナーリング（One-on-One Partnering）」の利用は前年比 20%増となり、過去最多のビジネスマッチング・ミーティングを記録した[700]。

9.3.4 ジカ熱への対応

2016 年の BIO International Convention は、ジカ熱の流行がピークを迎えていた時期に開催された。この会議で、BIO 会員の製薬企業 3 社の代表者が登壇し、各企業のジカ熱治療への取組みを紹介した。Sanofi Pasteur 社と EpiVax 社は、フラビウイルス（ジカウイルスが属するウイルスの種類）のワクチン開発を紹介した。また、Oxitec 社は、遺伝子改変を施して生殖期を迎える前に死亡する蚊を紹介し、都市部であ

[696] https://www.bloomberg.com/news/articles/2016-09-06/drug-industry-group-starts-ad-campaign-to-push-back-on-pricing
[697] http://www.businessinsider.com/pfizer-launches-ad-campaign-featuring-its-scientists-2016-5
[698] http://convention.bio.org/innovationzone/?_ga=1.167421758.1205843109.1485266633
[699] http://www.biotech-now.org/business-and-investments/2017/01/bio-one-on-one-partnering-schedules-over-1000-meetings-at-j-p-morgan
[700] http://www.biotech-now.org/events/2016/10/bio-investor-forum-celebrates-15th-year-with-record-number-of-partnering-meetings

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

れば 6 か月で蚊の個体数を 90%減少させられると説明した[701]。このことからも、BIO が 2016 年にジカ熱の治療法を優先課題に掲げていたことが伺える。

9.3.5 海外アウトリーチ活動

BIO の Greenwood CEO は 2017 年、インドのグジャラートで講演し、インドにおけるバイオテクノロジー分野のイノベーションに対するより厳格な知的財産保護法の制定をナレンドラ・モディ首相に求めた。講演の中で Greenwood CEO は、そのような法律が制定されれば、低い研究開発コストと数多くの STEM 人材に恵まれたインドのバイオテクノロジー産業には、各方面からの投資が「津波のごとく」押し寄せる可能性があると語った[702]。BIO は、自らが主催する国際会議などを通じて、インドをはじめ諸外国との事業連携を積極的に求めており、特許保護された商品のグローバル市場のシェア拡大を狙っている。

[701] http://www.biotech-now.org/health/2016/06/biotech-solutions-for-zika
[702] http://www.ip-watch.org/2017/01/13/us-biotech-industry-head-indias-modi-follow-ip-practices-get-tidal-wave-investment/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

10 米国のライフサイエンス業界団体

本章では米国の主要ライフサイエンス業界団体をアルファベット順に紹介する。なお、BIO については別章（第 9 章）にて取り上げている。

10.1 再生医療同盟（Alliance for Regenerative Medicine: ARM）

10.1.1 創設とキーパーソン

再生医療同盟（Alliance for Regenerative Medicine: ARM）[703]は、安全かつ効果的な再生医療技術を推進するために、法規制等の行政関連課題への対応を図るとともに、一般への理解促進や社会的関心を高めるために、企業・研究機関・投資家・患者団体といったステークホルダーを支える国際的な団体として 2009 年に設立された。現在のメンバー数は 225 で、会長は PCT 社の Robert Preti 氏。ワシントン D.C.を拠点に置いている[704][705]。

10.1.2 団体概要

ARM の活動概要は以下の通りである。

- 世界の再生医療団体の代弁者としての活動を行う。
- 医療ケアを提供する病院や医師が再生医療製品にアクセスしやすくするため、様々なステークホルダーとの結びつきを強固にする。
- 再生医療分野で新たな診断法・治療法・機器を開発するための政策導入および支援に向けた、規制やイニシアチブの開発、官民による研究開発への投資の促進、FDA などの規制機関との協働による技術移転の促進を行う。
- メンバー企業や組織の成長を支援するための、事業開発や投資家への働きかけを行う。
- 再生医療分野における協力、提携、一般市民の理解を高め、ヘルスケア改革に貢献するよう、教材の開発、患者団体との連携、再生医療の進歩に関するコミュニケーションを行う[706]。

10.1.3 これまでの活動内容と最近の動向

ARM は 2017 年 1 月 19 日、再生医療製品の国際的な利用を推進するため、加工・測定・分析技術の向上を支援する官民パートナーシップ「再生医療のための国際規格調整機関（the International Standards Coordinating Body for Regenerative Medicines）」を立ち上げた[707]。また、2016 年 9 月に「先進医療製品の製造管理および品質管理に関するガイドライン（Guidelines on Good Manufacturing Practice for

[703] http://alliancerm.org/
[704] http://alliancerm.org/page/about-us
[705] http://alliancerm.org/page/officers%2C-board-and-executive-committee
[706] http://alliancerm.org/page/about-us
[707] http://alliancerm.org/press/alliance-regenerative-medicine-launches-standards-coordinating-body-advance-development-and

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

Advanced Therapy Medicine Products ）」草案への意見書を欧州委員会に提出し[708]、同年 9 月に、FDA によるヒトの細胞・組織またはそれらに基づく製品の規制に関するガイドライン草案への意見書を提出する[709]など、規制機関への圧力団体としての活動を行っている。また、投資家向けに、2016 年 3 月にニューヨークで「Fourth Annual Cell & Gene Therapy Investor Day[710]」、同年 11 月にロンドンで「Fourth Annual 2016 European Advanced Therapies Investor Day[711]」を開催するなど、再生医療分野への投資を呼び込む活動も行っている。

10.2 米国研究製薬工業協会(Pharmaceutical Research and Manufactures of America: PhRMA)

10.2.1 創設とキーパーソン

米国研究製薬工業協会(Pharmaceutical Research and Manufactures of America: PhRMA)[712]は、米国のバイオ医薬品企業を代表し、医学研究を支える政策を推進するため、1958 年にワシントン D.C.に設立された。プレジデント兼 CEO である Stephen J. Ubl 氏は、2016 年にヘルスケア業界の専門誌 Modern Healthcare で「ヘルスケア業界で最も影響力のある 20 人」の一人に選ばれた[713]。

10.2.2 団体概要

PhRMA[714]の活動概要は以下の通りである。

- 医薬品の発見、開発、承認の向上を目指す。
  - 医薬品の評価、検査、認定を、21 世紀のツールを使って行うことを推進する。
  - FDA の医薬品承認が、科学的な形で効率的に行われることを確実にする。
  - 未承認ジェネリック薬の削減と、競争が必要な分野でインセンティブを実施する。
- 保険償還を量から質へシフトするバリューベース制度への移行を促進する。
  - 支払者のための予測可能性とエビデンスの普及を促進させる。
  - バリューベース償還制度に関係する規制や法律の不確実性を取り除くことを目指す。
  - 患者主体医療（Patient Centric Care）への支援とバリューフレームワークを向上させる。
- 消費者への関与および権利拡大への取り組みを次のようにして行う。
  - 自己負担コストに関する重要情報へのアクセスを向上させる。
  - 医薬品のクオリティに関する重要情報へのアクセスを向上させる。

[708] http://alliancerm.org/press/alliance-regenerative-medicine-submits-comments-response-european-commission%E2%80%99s-draft
[709] http://alliancerm.org/press/alliance-regenerative-medicine-submits-comments-response-fda-draft-guidances-regulation-human
[710] http://alliancerm.org/press/alliance-regenerative-medicine-releases-agenda-fourth-annual-cell-gene-therapy-investor-day
[711] http://alliancerm.org/press/alliance-regenerative-medicine-announces-fourth-annual-2016-european-advanced-therapies
[712] http://www.phrma.org/
[713] http://www.phrma.org/about#key; http://www.phrma.org/biography/stephen-j-ubl
[714] http://www.phrma.org/about/our-mission

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

  - 保険給付設計における差別をなくす。
  - 治療に関する重要情報へのアクセスを向上させる。
- 市場の歪みへの取り組みを次のようにして行う。
  - 歪んだ価格コントロールに対処する。
  - 処方薬のコストを商業的保険のリスク調整に含める。

10.2.3 これまでの活動内容と最近の動向

2017 年 1 月 31 日、PhRMA の Ubl CEO は、トランプ大統領、ペンス副大統領、および米国下院エネルギーおよび商業対策委員会会長との会合で、先端治療の発展において米国が世界をリードするため、バイオ医薬品産業の強化を協調して行っていく必要性について会談をおこなった[715]。Ubl氏は 2016 年 11 月、PhRMA が作成した「Principles on Responsible Sharing of Truthful and Non-Misleading Information」に示した原則が、FDA が考える規制改正の土台となるとする声明を発表している他[716]、2016 年 12 月に成立した 21 世紀の治療法が連邦議会下院を通過した際には称賛する声明を発表している[717]。

10.3 癌免疫療法ソサエティー（Society for Immunotherapy of Cancer: SITC）

10.3.1 創設とキーパーソン

The Society for Immunotherapy of Cancer（SITC）[718]は、ウィスコンシン州ミルウォーキーを拠点とし、1984 年に 40 名のメンバーにより創設された[719]。当初の名称は Society for Biological Therapy（SBT）であったが、活動分野を癌に特化して国際化を図るため、2002 年に現在の名称に変更された。SITC は癌免疫学および免疫療法についての科学的情報の交換と普及を行っており、2017 年 1 月現在、17 の医療専門分野における研究者や臨床医、政府代表者、企業幹部など、世界中から 1,700 名近いメンバーを抱えている[720]。プレジデントは Lisa H. Butterfield 氏[721]である。

10.3.2 団体概要

SITC[722]は、全ての癌患者にとって、癌の免疫療法が治療のスタンダードとなり、治癒が実現することを目的としている。活動概要は次の通りである。

- SITC のミッションを共有する基礎科学者、トランスレーショナル研究者、臨床医、若年研究者、各種団体間において情報交換や教育を促進させる。
- 癌の免疫療法についてベストな研究開発を追求する。

[715] http://catalyst.phrma.org/phrma-ceo-statement-following-meeting-with-president-trump
[716] http://www.phrma.org/press-release/phrma-statement-on-fda-communications-hearing
[717] http://www.phrma.org/press-release/phrma-statement-on-21st-century-cures-act-house-passage
[718] http://www.sitcancer.org/home
[719] http://www.sitcancer.org/aboutsitc
[720] http://www.sitcancer.org/aboutsitc/sitc-history
[721] http://www.immunology.pitt.edu/person/lisa-h-butterfield-phd
[722] http://www.sitcancer.org/aboutsitc/mission

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

- 癌の免疫学・免疫療法に関する基礎研究から臨床への橋渡しを促進させる。
- 全ての利害関係者にとって何が新しく、重要なのかを審議し、効果的な情報伝達を行う。

SITC は、以下のような目標設定をしている。

- メンバーの利益追求と主要な後援者との関係強化を図りながら、新たな会員を惹きつけ、適切な活動会員数を維持して組織の強化を行う。
- 主要な戦略的パートナーとの関係強化により、組織の影響力を拡大させる。
- 癌の免疫学についての原則と実践に関する教育と訓練を提供する。

10.3.3 これまでの活動内容と最近の動向

2016 年 12 月に血液性腫瘍と前立腺癌の免疫療法に関するガイドラインを発表した[723]。また、近年癌の免疫療法の研究・臨床現場への応用が進むにつれて、治療現場と研究コミュニティが直接繋がる場の必要性が高まったとして、2017 年 1 月に新たなウェブサイト「Cancer Immunotherapy CONNECT, Powered by SITC」を開設した[724]。また、SITC はこれまで、「SITC 免疫バイオメーカータスクフォース（SITC Immune Biomarkers Task Force）」「癌免疫療法治験ネットワーク（Cancer Immunotherapy Trials Network）」「癌免疫療法ガイドラインタスクフォース（Cancer Immunotherapy Guidelines Task Force）」等の様々なイニシアチブを展開している他[725]、研究者への助成事業「Forward Fund」の運営等も行っている[726]。

10.4 米国実験生物学会連合（Federation of American Societies for Experimental Biology: FASEB）

10.4.1 創設とキーパーソン

米国実験生物学会連合（Federation of American Societies for Experimental Biology ：FASEB）は、もともとは米国生理学会（American Physiological Society）、全米生化学会（American Society of Biological Chemists）および米国薬理・実験治療学会（American Society for Pharmacology and Experimental Therapeutics）の独立した 3 つの組織が討論する場（フォーラム）として、勉強会や論文発表の促進、生物学的研究成果の周知を目的として 1912 年に創立された[727]。2017 年現在、米国最大のバイオ医学研究者連合として、世界各国から 30 の組織、12 万 5,000 人以上の研究者を擁する[728]。FASEB は、生物学およびバイオ医学の研究者たちの政治的代弁者として認知されている。プレジデントは、バイオメディカル研究所として著名な Sanford Burnham Prebys Medical Discovery Institute（カリフォルニア州）の人

[723] http://connect.sitcancer.org/aboutsitc/press-releases/2016/guidlines-heme-prostate
[724] https://www.sitcancer.org/aboutsitc/press-releases/2017/connect-launch
[725] http://connect.sitcancer.org/research/society-initiatives
[726] https://sitcancer.connectedcommunity.org/aboutsitc/support-sitc
[727] http://www.fasebcentennial.org/
[728] http://www.faseb.org/About-FASEB/Our-Mission.aspx

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

類遺伝学プログラムディレクターで糖鎖生物学教授の Hudson H. Freeze 氏[729]である。NIH 近くのメリーランド州ベセスダに拠点を置き、オフィススペースなどの貸し出しも行っている[730]。

10.4.2 団体概要

FASEB は、生物学およびバイオ医学における進歩と教育促進に寄与することで、健康福祉を向上させることをミッションとして、設立からおよそ 100 年に亘って、科学研究を米国の最優先事項とすべく最前線で活動を行ってきた[731]。多くの会議を主催する他、会報の発行、就職の斡旋、教育セミナーの開催等を行っている[732]。

10.4.3 これまでの活動内容と最近の動向

1912 年、前述した 3 つの組織の代表により、オハイオ州クリーブランドで初会合が開かれた。FASEB では 2011 年時点、164 名のノーベル賞受賞者を輩出しており[733]、1981 年の、NIH 傘下の NIGMS による、バイオ医学分野でのマイノリティ研究者の育成を目指した「Visiting Scientists for Minority Institutions Program」への参加や、1995 年の Newt Gingrich 元下院議長へ NIH 予算増額への働きかけ等、政治的な影響力を発揮している。2012 年にはメンバーとなっている組織が 26、研究者は 10 万人を超えた[734]。また、毎年バイオ医療や生物学的研究で顕著な成果を上げた個人に対し「Public Service Award」を授与しており、2017 年は、バイオ医学の知識を広く一般に普及させたとして、NIH のディレクターFrancis S. Collins 博士に授与された[735]

10.5 米国遺伝子細胞治療学会（American Society for Gene and Cell Therapy: ASGCT）

10.5.1 創設とキーパーソン

米国遺伝子細胞治療学会（American Society of Gene & Cell Therapy: ASGCT）[736]は、遺伝子・細胞治療の研究に従事する科学者・研究者を代表する組織として、ワシントン大学医学部（University of Washington's School of Medicine）教授の George Stamatoyannopoulos 氏と、米国の遺伝子治療の代表的研究者たちによって 1996 年に設立された。現時点でのメンバーは米国内外 2,400 名近くに及び、遺伝子・細胞治療に係る個人の団体としては最大級である。ウィスコンシン州ミルウォーキーを拠点とし、

[729] http://www.faseb.org/Portals/2/PDFs/Board%20of%20Directors/Hudson%20Freeze.pdf
[730] http://www.faseb.org/About-FASEB/Locations.aspx
[731] http://www.fasebcentennial.org/
[732] http://www.faseb.org/About-FASEB/Our-Mission.aspx
[733] http://www.fasebcentennial.org/history/nobel-prize-winners
[734] http://www.fasebcentennial.org/history
[735] http://faseb.org/About-FASEB/Awards/Public-Service-Award.aspx
[736] http://www.asgct.org

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

2017 年現在のプレジデントは NIH 所属の Cynthia Dunbar 氏、次期プレジデントはベイラー医科大学（Baylor College of Medicine）所属の Helen E. Heslop 氏である[737][738]。

10.5.2 団体概要

ASGCT のメンバーは科学者、医者、患者代表、その他の遺伝子・細胞治療専門家により構成され、その所属先は大学、病院、政府関係機関、基金、バイオテクノロジーおよび医薬品企業など多岐に及ぶ。病状を緩和するための、遺伝子・細胞治療に関する発見や臨床的応用に導く知見および教育を向上・推進させることミッションとし、遺伝子・細胞治療の医療応用に向けた橋渡し役として、患者や社会に奉仕することをビジョンとして掲げている[739]。

2010 年の第 13 回年次総会には 1,672 名が出席し、参会者のうち 73%が大学研究機関に所属している人物で、54%が博士号所有者、28%が医学博士であった。また、この年次総会で論文のアブストラクトが約 950 本提出された。ASGCT は遺伝子導入、遺伝子・細胞治療等に関するジャーナル「Molecular Therapy」を毎月発行しており、ISI Essential Science Indicators において最も引用の多い論文集とされている[740]。

10.5.3 これまでの活動内容と最近の動向

2001 年、遺伝子・細胞治療に関する研究と製品開発を行うバイオテクノロジー・医薬品企業から構成されるバイオ産業リエゾン委員会（Bio-Industry Liaison Committee）を創設した。2011 年に、トランスレーショナル・サイエンス・トレーニング・コース、NIH 遺伝子治療シンポジウムの 2 つのプログラムを導入し[741]、2012 年には NIH に対し「Target 10」を提案している。「Target 10」とは、数年以内に実用化可能な遺伝子治療対象疾患（レーバー黒内障、ADA 欠損症血友病、連鎖免疫不全症、パーキンソン病、加齢黄斑変性症、副腎白質ジストロフィー、サラセミア貧血、EBV リンパ腫、悪性黒色腫）を示した内容である[742]。

10.6 国際幹細胞学会（International Society for Stem Cell Research: ISSCR）

10.6.1 創設とキーパーソン

イリノイ州スコキエに拠点を置く国際幹細胞学会（International Society for Stem Cell Research：ISSCR）[743]は、幹細胞学者と医師の国際的協調と新たな治療法の開発を促進させる組織として 2002 年に

[737] http://www.asgct.org/about-the-society/history-and-overview
[738] http://asgct.execinc.com/scriptcontent/asp/cmte/view.asp?type=COMMITTEE/BOARD&subtype=OFFICERS
[739] http://www.asgct.org/about-the-society/our-mission-and-vision
[740] http://www.asgct.org/about-the-society/history-and-overview
[741] 同上
[742] http://www.asgct.org/UserFiles/file/FinalSamulskiLettertoCollins.pdf
[743] http://www.isscr.org/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

設立された[744]。プレジデントは米 Neural Stem Cell Institute 所属の Sally Temple 氏で、次期プレジデントはオランダ Hubrecht Institute 所属の Hans C. Clevers 氏である[745]。

10.6.2 団体概要

世界 60 カ国以上から 4,100 名のメンバーを擁する。メンバーは多能性幹細胞および成人の臓器及び組織内の幹細胞を用いた基礎研究や応用研究に従事する研究者で構成されている。ISSCR は、患者とその家族の健康にまつわる幅広い問題について学界および産業界を代表する立場であり、幹細胞科学の基礎原理と新たな治療法の可能性について公的・政府規制機関への教育を行う[746]。

10.6.3 これまでの活動内容と最近の動向

2017 年 1 月に、サンフランシスコのバイオテクノロジー、ヘルスケア、ファンディングおよびビジネス界のリーダーと科学者を繋げるフォーラム「Nucleus Forum」を開催した。このフォーラムでは、ハーバード大学医学部（Harvard Medical School）の George Q. Daley 学部長、ISSCR Global Advisory Council の議長 Susan Lim 氏と Deepak Sharma 氏、武田薬品工業、GE Ventures 社などの企業からの代表者が共同議長となった[747]。この他、2016 年には、NIH のヒトの幹細胞研究に関するガイドライン改正案に関するコメントを発表した他[748]、FDA のヒトの細胞・組織・組織を基盤とした製品への規制に関するガイダンス草案に関するコメントをして[749]、REGROW Act への反対声明[750]の発表等を行っている。

10.7 Biocom

10.7.1 創設とキーパーソン

Biocom は、カリフォルニア州のライフサイエンス産業の振興を目指し、研究機関や企業に向けて資金提供、情報共有、ネットワーキングを行う組織[751]として 1995 年にサンディエゴに設立された[752]。代表は Zavante Therapeutics 社の CEO である Theodore Schroeder 氏である[753]。

---

744 http://www.isscr.org/home/about-us/about-the-isscr
745 http://www.isscr.org/home/about-us/isscr-leadership/officers-and-board-of-directors
746 http://www.isscr.org/home/about-us/about-the-isscr
747 http://www.isscr.org/home/about-us/news-press-releases/2017/2017/01/13/isscr-convenes-nucleus-forum-to-support-advance-biomedical-investment
748 http://www.isscr.org/home/about-us/news-press-releases/2016/2016/09/07/isscr-comments-regarding-proposed-changes-to-the-u.s.-national-institutes-of-health-guidelines-on-human-stem-cell-research
749 http://www.isscr.org/home/about-us/news-press-releases/2016/2016/09/13/isscr-comments-before-fda-panel-on-draft-guidances-relating-to-the-regulation-of-human-cells-tissues-or-cellular-or-tissue-based-products
750 http://www.isscr.org/home/about-us/news-press-releases/2016/2016/09/15/isscr-opposes-the-regrow-act
751 https://www.biocom.org/s/
752 https://www.biocom.org/s/AboutUs
753 https://www.biocom.org/s/Board-of-Directors

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

10.7.2 団体概要

カリフォルニア州のライフサイエンス分野において最大規模の業界団体で、825 のメンバーを擁する。サンディエゴ本部の他、ロサンゼルス、ワシントン D.C.、東京にオフィスを置いており、以下の 5 つの活動を中心とする[754][755]。

- 公共政策と提言：国・州・地域の規制機関と共に、提言および公共政策イニシアチブを推進する。
- ネットワークの構築：イベントや会議、専門委員会、リーダー間の会食、ベンチャーキャピタルデイ、メンバーネットワーキング等のプラグラムを通じてメンバーを成功に導くネットワーク作りを行う。
- 資金調達：エンジェル投資、ライセンス取得や提携の機会、M&A についてのディスカッション、補助金のリサーチ、マンツーマンディスカッション等を通じて、メンバーをベンチャーキャピタルやその他の資金源へと繋げる。
- 経営戦略とサービス：Biocom の購買グループでは、企業のコストを減らし効率化を進めるため、団体購入のプログラムを提供している。2016 年、メンバーは 1 億 5,000 万ドルを節約することができた。
- 人材の養成：高品質な人材育成や STEM 教育のプログラムを通じて、ライフサイエンス分野のエコシステム拡大を推進する。

10.7.3 これまでの活動内容と最近の動向

2014 年 3 月、サンディエゴ科学技術祭（San Diego Festival of Science and Engineering）において、Coalition of State Bioscience Institutes (CSBI)と共同で 5～12 年生を対象とした STEM ビデオコンペを開催した。2016 年 2 月、地元のライフサイエンス企業と共にワシントン D.C.を訪れ、FDA や NIH などの政府機関関係者とプレシジョン医療（Precision Medicine）の進歩や規制の問題について会談した。また、2016 年 12 月には「21 世紀の治療法」について称賛する声明を発表している[756]。

10.8 マサチューセッツバイオテクノロジーカウンシル（Massachusetts Biotechnology Council: MassBio）

10.8.1 創設とキーパーソン

マサチューセッツバイオテクノロジーカウンシル（Massachusetts Biotechnology Council: MassBio）MassBio[757]は同州ケンブリッジを拠点としており、マサチューセッツ州のライフサイエンスクラスターを支援し、それらを代表する組織として 1985 年に設立された[758]。代表は Eleven Biotherapeutics 社 の CEO である

[754] https://www.biocom.org/s/AboutUs
[755] https://www.biocom.org/s/CorporateFactsheet
[756] https://www.biocom.org/s/Press%20Releases
[757] https://www.massbio.org/
[758] https://www.massbio.org/about

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

Abbie Celniker 氏[759]で、プレジデント兼 CEO は同州の経済開発担当次官出身の Robert K. Coughlin 氏である[760]。

10.8.2 団体概要

975 以上の企業、学術機関、基金やその他ライフサイエンスやヘルスケアに関わる団体を代表し、政策の提案や教育の普及を図ると共に、メンバーへ各種プログラム、イベント、業界情報、情報サービスの提供を行う[761]。教育サービスについては、ライフサイエンスについての学習とキャリア形成を支援するための非営利団体 MassBioEd の運営を 2001 年から行っている[762]。

10.8.3 これまでの活動と最近の動向

MassBio はマサチューセッツ州唯一の起業家指導プログラム「MassCONNECT」を運営しており、これまで様々なスタートアップ企業を支援している[763]。2016 年 11 月には、同プログラムの支援対象としてケンタッキー州の医療機器メーカーInscope Medical Solutions 社と肺疾患治療ための医療機器メーカーLiberate Medical 社を選出した。これは、Kentucky Life Sciences Council とのパートナーシップ「Kentucky – Massachusetts Turnpike」により初めてケンタッキー州から同プログラムに参加することが実現したものである[764]。その他、政治的発言も行っており、最近では、2017 年 1 月に特定 7 か国からの入国を制限する大統領令に対し、米国、特にマサチューセッツ州のライフサイエンス産業に対する脅威だとする声明を発表している[765]。

10.9 バイオヘルスイノベーション BioHealth Innovation（BHI）

10.9.1 創設とキーパーソン

バイオヘルスイノベーション（BioHealth Innovation: BHI）[766]は、メリーランド州ロックヴィルに拠点を置くアーリーステージのバイオテクノロジー企業を研究段階から商業化の段階まで橋渡しする官民パートナーシップで、メリーランド州地域のバイオテクノロジー産業を振興する目的で 2011 年に設立された[767]。代表は QIAGEN 社の上級副社長を務める Doug Liu 氏、プレジデント兼 CEO は、Innovation America の創業者で CEO の Richard Bendis 氏である[768][769]。

759 https://www.massbio.org/about/board-of-directors/abbie-celniker-43510
760 https://www.massbio.org/about/staff/robert-k-coughlin-22128
761 https://www.massbio.org/about
762 https://www.massbio.org/about/massbio-ed
763 https://www.massbio.org/news/recent-news?searchString=MassCONNECT
764 https://www.massbio.org/news/recent-news/kentucky-startups-join-massconnect-program-127159
765 https://www.massbio.org/news/recent-news/statement-by-massbio-president-and-ceo-robert-k-coughlin-on-president-trumps-immigration-ban-executive-order-129942
766 http://www.biohealthinnovation.org/
767 https://www.linkedin.com/company/biohealth-innovation-inc-
768 http://www.biohealthinnovation.org/about-us/board#liu
769 http://www.biohealthinnovation.org/about-us/board#bendis

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

10.9.2 団体概要

BHI は、市場化すべきバイオテクノロジーの知的財産を調達・評価し、資金の投入を行い、ビジネスの支援を行う。詳細は以下の通りである[770]。

- アーリーステージにおける官民の資本の流れを増加させる。
- 商業化に関わるエキスパートのネットワークを活性化させる。
- 技術移転の動きを加速させ、イノベーションの商用化を促進させる。
- 国際的なバイオテクノロジーのリーダーとしての同地域のブランド化を支援する。
- 経験値の高いバイオテクノロジーの起業家を育成し、同地域における適切な労働者の供給を確保する。

10.9.3 これまでの活動と最近の動向

BHI は、米商務省（Economic Development Administration: EDA）の 2015 年地域イノベーション戦略プログラムから 49 万 5,000 ドルの補助金を受けている[771]。また、2016 年 10 月にはメリーランド州経済振興公社（Maryland Economic Development Corporation）から、モントゴメリー大学の Pinkney Innovation Complex for Science and Technology 内にあるジャーマンタウンイノベーションセンター（Germantown Innovation Center：GIC）の経営を任されることになった。GIC は、バイオテクノロジー分野のインキュベーションション施設である[772]。

10.10 ニューヨークバイオ（New York Bio）

10.10.1 創設とキーパーソン

NewYorkBIO[773]はニューヨークを拠点とし、ニューヨーク州のバイオテクノロジー企業・研究機関・その他の先進ライフサイエンス研究所や企業 250 以上を代表する組織である[774]。1990 年に設立された[775]。代表はニューヨークの Roche Innovation Center を率いる Judith Dunn 氏である[776]。エグゼクティブ・ディレクターは Nathan Tinker 氏で、同氏は 2007 年の着任前に Sabin Vaccine Institute Cancer Vaccine Consortium エグゼクティブ・ディレクターを務めていた[777]。

[770] http://www.biohealthinnovation.org/about-us
[771] http://www.biohealthinnovation.org/biohealth-news/bhi-press-releases/6099-biohealth-innovation-inc-awarded-495k-grant-by-u-s-economic-development-administration-eda
[772] http://www.biohealthinnovation.org/biohealth-news/bhi-press-releases/6943-maryland-economic-development-corporation-partners-with-biohealth-innovation-inc-to-manage-germantown-innovation-center
[773] http://www.newyorkbio.org/
[774] http://www.newyorkbio.org/site_page.cfm?pk_association_webpage_menu=2122&pk_association_webpage=5769
[775] https://www.facebook.com/pg/Newyorkbio/about/?ref=page_internal
[776] http://www.newyorkbio.org/site_page.cfm?pk_association_webpage_menu=2122&pk_association_webpage=5770
[777] http://www.newyorkbio.org/site_page.cfm?pk_association_webpage_menu=2122&pk_association_webpage=5772

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

10.10.2 団体概要

ニューヨーク州を活動範囲とするバイオテクノロジー産業の課題に取り組む共同体として、より良いビジネス環境を作るべく規制当局に働きかけており、次に上げる事項を最重要課題としている[778]。

- バイオ医療製品に対する価格規制に反対する。
- 州レベルでの遺伝子操作規制に反対する。
- 患者の安全を守るバイオシミラー規制を支持する。
- 患者の安全を守り、イノベーティブな治療や医療機器へのアクセスを促す。
- 州によるイノベーション投資ファンドを支援する。
- ニューヨーク州において、親バイオテクノロジー産業的な規制環境を維持する。

10.10.3 これまでの活動内容と最近の動向

2015 年 12 月、ACA（オバマケア）に対する資金供給を目的とした医療機器企業に対する課税を議会が一時凍結する法案を通過させたことに関し、エグゼクティブ・ディレクターの Tinker 氏は、「この凍結によって、アーリーステージおよびミドルステージの研究開発段階に対する投資家の意欲を刺激するだろう」として支持を表明した[779]。

10.11 テキサスヘルスケア＆バイオサイエンスインスティチュート（Texas Healthcare & Bioscience Institute: THBI）

10.11.1 創設とキーパーソン

テキサス州オースティンにあるテキサスヘルスケア＆バイオサイエンスインスティチュート（Texas Healthcare & Bioscience Institute: THBI）[780]は、テキサス州のバイオ医療、バイオテクノロジー、農業、医療機器イノベーションを促進する政策の主張・立案を行うことをミッションとする[781]。代表は BioNumerik Pharmaceuticals 社の CAO を務める David R. Margrave 氏で[782][783]、プレジデント兼 CEO は National Association for the Support of Long Term Care のエグゼクティブ・ディレクターを務めていた Thomas R. Kowalski 氏である[784]。

[778] http://www.newyorkbio.org/site_page.cfm?pk_association_webpage_menu=2442&pk_association_webpage=8224
[779] http://www.timesunion.com/business/article/Tax-breaks-to-lift-area-medical-device-businesses-6708444.php
[780] http://www.thbi.com/
[781] http://www.thbi.com/about-thbi
[782] http://www.bloomberg.com/research/stocks/private/person.asp?personId=8002701&privcapId=25613&previousCapId=25613&previousTitle=BioNumerik%20Pharmaceuticals,%20Inc
[783] http://www.thbi.com/about-thbi/thbi-leadership
[784] https://fee663dd06040f851228-3e089dcbaecf0a9dcdca3497c356aa22.ssl.cf2.rackcdn.com/af05be306e4342bfb03bda80d07d6f70.pdf

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

10.11.2 団体概要

同地域の 86 団体[785]の代表として、経済発展、研究開発とファンディング、倫理及び規制問題、税の問題等の課題に対して提言を行う。これらの提言は、アカデミックな研究、農業におけるバイオテクノロジー、医療機器開発、医薬品研究、従来型のバイオテクノロジー等、ライフサイエンスの全般にわたる幅広い分野において影響力を持つ[786]。

10.11.3 これまでの活動内容と最近の動向

THBI は 2014 年 6 月に Texas Healthcare and Bioscience Summit を主催している。この会議は、次の 10 年以内にテキサス州が、米国内はもとより国際的にヘルスケア・バイオテクノロジー産業のリーダーとなり、米西海岸、東海岸に次いで「バイオテクノロジー界のサードコースト」となることを目的として開催されたものである[787]。2015 年 6 月には、患者が代替可能な生物製剤の使用を可能とする法律に Greg Abbott テキサス州知事が署名を行ったことに対し、Biotechnology Industry Organization (BIO)と共に支持の意を表明した[788]。

10.12 バイオセンチュリー（BioCentury）

10.12.1 創設とキーパーソン

BioCentury[789]は 1992 年にプレジデント兼 CEO の David Flores 氏と代表の Karen Bernstein 氏によって創設され、バイオテクノロジーおよび製薬企業、投資家、学術機関、政府機関に対し、ライフサイエンス事業の構築や開発、維持に関する重要な戦略的課題についての情報、分析、データを提供している。カリフォルニア州レッドウッドシティを拠点とし、ワシントン D.C.、シカゴ、ロンドンにもオフィスを構える[790]。

10.12.2 団体概要

国際的ビジネス、出版、金融、バイオテクノロジーのバックグラウンドを持つスタッフが、企業戦略、パートナー契約、新技術、臨床データ、公共政策、金融市場について信頼性の高い最新情報を、紙面、ビデオ、オンライン、会議などで提供する。以下は BioCentury が提供するプラットフォームである[791]。

[785] http://www.thbi.com/about-thbi/our-members
[786] http://www.thbi.com/public-policy
[787] https://bionews-tx.com/news/2014/04/29/texas-healthcare-and-bioscience-institute-reveals-program-for-texas-healthcare-and-bioscience-summit/
[788] http://www.businesswire.com/news/home/20150622006496/en/Texas-Governor-Abbott-Signs-Bill-Ensuring-Patient
[789] http://www.biocentury.com/home
[790] https://www.biocentury.com/about-biocentury
[791] https://www.biocentury.com/about-biocentury

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

A. 出版物

- **BioCentury**: 主力となる出版物で、世界中のバイオ医薬品、投資、公共政策に関わる読者に届けている。
- **BioCentury Extra**: モバイルまたはオンライン向けに、短針やニュースを平日毎日配信している。
- **BioCentury Innovations**: 研究開発、営業開発、学術界、ベンチャーキャピタル向けに、投資に適した科学情報を毎週発行している。
- **BioCentury Week in Review**: バイオ医薬品取引情報、臨床・規制情報、金融取引情報を毎週発行している。

B. データソリューション

- **BCIQ（BioCentury Online Intelligence）**: Company Analyst、Financial Analyst、Pipeline Analyst という 3 つのデータベースでバイオ医薬品データを提供する。
- **BioCentury Archives**: 18 万件以上の BioCentury の記事、図表を検索できる。

C. 会議

- **Future Leaders in the Biotech Industry および NewsMakers in the Biotech Industry**: それぞれ毎年春と秋に開催され、ウォールストリートの投資家、医薬品規制当局、医薬品企業が一堂に会する。
- **Bio€quity Europe**: 欧州のバイオテクノロジーマーケットを拡大させることを目的に開催されている。

10.12.3 これまでの活動内容と最近の動向

2016 年の「NewsMakers」会議では、2017 年 1 月には、トランプ大統領が、規制を削減し規制にかかるコストを統制するという大統領令を出した際に、「FDA は規制の作成から遠ざかり、指針文書や規制に準ずる手段に頼るようになってしまう」とする法律家の見解をサイト上で紹介した[792]。

[792] https://www.biocentury.com/bc-extra/politics-policy/2017-01-30/trump-regulation-order-sparks-confusion-scorn, http://www.the-scientist.com/?articles.view/articleNo/48267/title/Trump-s-Crackdown-on-Federal-Regulations/

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved

2016 年米国バイオテクノロジー産業の動向

2017 年 3 月発行

独立行政法人　日本貿易振興機構
〒107-6006　東京都港区赤坂 1 丁目 12 番 32 号
アーク森ビル 6 階
サービス産業部　ヘルスケア産業課
電話 03-3582-8351

Copyright (C) 2017 JETRO. All rights reserved