

米国におけるバイオ医薬品に関する 政策・産業動向

2023年3月

独立行政法人 日本貿易振興機構

市場開拓・展示事業部 海外市場開拓課

ニューヨーク事務所

【免責条項】

本レ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下さい。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、本レ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、ジェトロおよび執筆者は一切の責任を負いかねますので、ご了承下さい。

はじめに

米国では、がん、糖尿病や心臓血管疾患等の慢性疾患の増加、高齢化の加速、個別化医療への期待等が引き金となり、バイオ医薬品への需要が高まってきており、大規模な市場を形成している。新型コロナウイルス感染症対策のワクチン開発・製造・配給の例にみられる通り、大規模な基礎研究を土台に、先端的な情報技術、バイオ医薬品製造技術などのシナジー効果が相重なり、ライフサイエンス分野での技術開発力・市場化へスピードで米国は世界を凌駕している。製薬会社、バイオ医療系の大手企業のみならず、スタートアップ企業も次々に創出され、米国経済において成長の著しい将来性のある産業として君臨しつつある。このようなダイナミックな産業の創出を後押ししている一つに、政策的ドライバーがある。

最近発表されたバイデン大統領の 2024 年度の予算教書においても、バイオテクノロジー分野での大学での研究を助成する全米科学財団 (NSF) が 113 億ドル (昨年比 19%増)、ライフサイエンス全般の研究を推進する NIH は 486 億ドル (2%増)、米国の公衆衛生システムの強化を視野にアメリカ疾病予防センター (CDC) は 116 億ドル (26%増) と大幅な予算増が見込まれている。バイデン政権では、がんによる死亡率の減少を目指す国を挙げた「がんムーンショット」のイニシアティブの立ち上げ、「サステナブルかつ安全でセキュアな米国のバイオエコノミーのためのバイオテクノロジー及びバイオ製造の進展に関する大統領令」の発令など、バイオ医療分野での研究開発は加速される見込みである。とくに、医薬品の原料に係る国際的なサプライチェーンの問題等への対処も政策的な課題として取り上げられており、国内供給確保に向けて、米国内での製造基盤が確立されると見込まれる。同時に、医療費負担が他の先進諸国と比べて極めて高い米国の医療保険制度の下、高騰する医薬品の価格が問題視されており、医薬品の価格を抑える動きも出てきている。

米国では、バイオ医療産業のエコシステムを支えるバラエティに富むクラスター数多くが存在する。今回は、主要エコシステムランキングで常に首位を争うボストン、シリコンバレー及びサンディエゴに加え、エマージング拠点として近年急成長を遂げている 3 都市を紹介する。これらの都市は、それぞれに得意分野や強みを持ち、大学、研究機関、病院、企業、支援組織等主要プレイヤー群が強固な連携関係を作りながら、バイオ医療のイノベーションを創り出している。日本のバイオ医療関連企業も積極的にクラスターに参画し、米国のバイオ医療ダイナミズムの一角を織りなしている。

本報告書が日本企業にとってバイオ医療事業戦略の一助になることを願っている。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。

2023 年 3 月

独立行政法人 日本貿易振興機構
市場開拓・展示事業部 海外市場開拓課
ニューヨーク事務所

〈目次〉

1	米国におけるバイオ医療政策	1
1.1	バイオエコノミーイニシアティブ.....	1
1.1.1	大統領令の背景と目指す方向性等.....	1
1.1.2	連邦政府機関の取組.....	2
1.2	がんムーンショットイニシアティブの進捗.....	4
1.3	インフレ削減法（IRA）における薬価制度改革に関する議論.....	7
1.3.1	IRAにおける薬価制度改革の内容.....	7
1.3.2	医薬品業界からの反発と今後の見通し.....	9
2	国立衛生研究所（NIH）を中心とする米政府における研究開発助成動向	9
2.1	国立衛生研究所（NIH）.....	9
2.1.1	NIH 全体の予算額の推移.....	10
2.1.2	各研究所・センターの状況.....	11
2.1.3	NIH の研究事業における Intramural Research と Extramural Research の関係.....	13
2.1.4	NIH からのバイオテクノロジー分野への助成の状況と医薬品開発における NIH の役割.....	14
2.1.5	新たな動き.....	16
2.2	生物学先端研究開発局（BARDA）.....	17
2.2.1	BARDA の予算額の推移.....	17
2.2.2	連邦政府全体としての取り組みとそこでの BARDA の果たす役割.....	18
2.2.3	事業分野とこれまでの成果の概観.....	18
3	バイオ医療をめぐる大手医薬品企業とバイオ医薬品企業の連携動向	19
3.1	大手医薬品企業とバイオ医薬品企業の連携動向.....	19
3.2	医薬品の研究開発プロセスと医薬品企業間の連携モデル.....	21
3.3	小規模医薬品企業のプレゼンスの拡大.....	22
4	CRO・SMO をめぐる動向	24
4.1	医薬品の研究開発プロセスの中でのアウトソーシングの役割等.....	24
4.2	CRO の現状.....	25
4.3	SMO の現状.....	27
5	バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）をめぐる動向	28
5.1	BIO の概要.....	28
5.2	BIO の最近の動向.....	29
5.2.1	BIO リーダーシップの変遷.....	29
5.2.2	2021 年の米国バイオサイエンス業界の動向.....	30
5.2.3	過去 10 年間の臨床開発成功率の研究報告.....	31
5.2.4	インフレ削減法（IRA）における薬価制度改革に対するロビイング活動.....	33

6	米国バイオ医薬品関連分野のエコシステム	33
6.1	米国におけるバイオ医薬品エコシステムの概観.....	33
6.2	各エコシステムの動向.....	35
6.2.1	シリコンバレー.....	35
6.2.2	ボストン.....	38
6.2.3	サンディエゴ.....	42
6.2.4	フィラデルフィア.....	46
6.2.5	ワシントン DC.....	50
6.2.6	ノースカロライナ.....	53

〈図表目次〉

図表 1	: NIH 予算額 (FY2000-FY2022) の推移.....	10
図表 2	: NIH 予算額の推移 (各部門別)	11
図表 3	: NIH 各部門別予算の比較 (FY2022)	13
図表 4	: NIH のバイオテクノロジー分野への助成額推計 (FY2008-FY2022)	14
図表 5	: NIH のバイオテクノロジー分野への助成額推計: 研究所ごとの割合 (FY2021)	15
図表 6	: 2019-2022 の M&A 上位 10 案件.....	19
図表 7	: 医薬品の研究開発プロセスと医薬品企業間の連携モデル	22
図表 8	: EBP が開発・FDA への申請を行った NAS の割合の推移	23
図表 9	: EBP の本拠地の分布の推移.....	24
図表 10	: 医薬品の研究開発プロセスと CRO・SMO の位置づけ.....	25
図表 11	: 世界の CRO の市場規模: 将来推計 (単位: 億ドル)	25
図表 12	: 2022 年 BIO International Convention のイベント会場の様子.....	29
図表 13	: BIO 報告書.....	31
図表 14	: BIO 報告書.....	32
図表 15	: 主要エコシステムのランキング	34
図表 16	: 米国エコシステム	35
図表 17	: シリコンバレーのライフサイエンス産業基本データ (2021 年)	36
図表 18	: シリコンバレーにおける主要プレイヤー.....	37
図表 19	: シリコンバレーエコシステム	38
図表 20	: ボストンのライフサイエンス産業基本データ (2021 年)	39
図表 21	: ボストンにおける主要プレイヤー.....	40
図表 22	: マサチューセッツ州に本社を置く企業の創薬開発段階 (2021 年)	41
図表 23	: 州別創薬件数 (2021 年)	41
図表 24	: ボストンエコシステム	42
図表 25	: サンディエゴのライフサイエンス産業基本データ (2021 年)	43

図表 26 : サンディエゴにおける主要プレイヤー.....	44
図表 27 : サンディエゴエコシステム.....	46
図表 28 : フィラデルフィアのライフサイエンス産業基本データ (2021 年)	47
図表 29 : フィラデルフィアにおける主要プレイヤー	48
図表 30 : フィラデルフィアエコシステム	49
図表 31 : ワシントン DC における主要プレイヤー.....	51
図表 32 : BioHealth Innovation 地域にある連邦政府・軍関連施設	52
図表 33 : ワシントン DC エコシステム	53
図表 34 : リサーチトライアングルにおける日本企業の進出状況.....	54
図表 35 : リサーチトライアングルにおける海外企業の進出状況.....	55
図表 36 : ノースカロライナにおける主要プレイヤー	55
図表 37 : ノースカロライナエコシステム	57

1 米国におけるバイオ医療政策

米国では、がん、糖尿病や心臓血管疾患等の慢性疾患の増加等に合わせてバイオ医薬品への需要が高まってきており、大規模な市場を形成している¹。最近では、がんによる死亡率の減少を目指す国を挙げた「がんムーンショット」のイニシアティブも立ち上げられ、バイオテクノロジーの研究開発が盛んになると予想される。また、医薬品の原料に係る国際的なサプライチェーンの問題等への対処も政策的な課題である。さらに、医療費負担も他の先進諸国と比べて極めて高い医療保険制度²の下で、高騰する医薬品の価格が問題視されており、医薬品の価格を抑える動きも出てきている。以下、バイオ医薬品産業にかかわる連邦政府の政策に関連する最近の動きについてまとめた。

1.1 バイオエコノミーイニシアティブ

バイデン大統領は 2022 年 9 月 12 日、「サステナブルかつ安全でセキュアな米国のバイオエコノミーのためのバイオテクノロジー及びバイオ製造の進展に関する大統領令」（Executive Order on Advancing Biotechnology and Biomanufacturing Innovation for a Sustainable, Safe, and Secure American Bioeconomy : 以下「大統領令」という。）に署名した。以下、大統領令の背景及び目指す方向性、さらに連邦政府における関連の取組の状況等について、医療政策に関連する部分を中心にまとめた。

1.1.1 大統領令の背景と目指す方向性等

各種産業におけるバイオテクノロジーの活用が他国でも進むなか、米国のバイオテクノロジー産業は重要な化学製品や医薬品原薬（active pharmaceutical ingredients : APIs）を含めた原料等の国外への依存度が高まってきており、それが国家安全保障上の脅威につながると認識されるようになってきた。そのような状況を踏まえ、バイオテクノロジーの革新を加速化させて医療、農業、エネルギー等を含む広範囲の産業部門にわたるバイオエコノミーの振興を図り、サプライチェーンの強化、雇用創出や食料・エネルギー安全保障、気候変動等に対応することを視野に入れて、次のような実施項目を含む大統領令が発出された³。

- (1) 米国内のバイオ製造体制の拡充：現在多くが国外にある米国バイオ関連企業の製造拠点について、米国内への移転を進め、サプライチェーンの強化を図る。
- (2) バイオ製品の市場流通の増大：連邦政府機関におけるバイオ製品の調達確保を通じて、石油製品の代替物の提供及び雇用の確保を進め、新たな市場を形成する。

¹ <https://www.psmarketresearch.com/market-analysis/biopharmaceuticals-market>

² <https://www.oecd-ilibrary.org/sites/ae3016b9-en/1/3/7/1/index.html?itemId=/content/publication/ae3016b9-en&csp=ca413da5d44587bc56446341952c275e&itemIGO=oecd&itemContentType=book>

³ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/statements-releases/2022/09/12/fact-sheet-president-biden-to-launch-a-national-biotechnology-and-biomanufacturing-initiative/>

- (3) 難題を解決するための研究開発の促進：Covid-19 の mRNA ワクチンのような優先的なニーズの特定と重点的な支援により、バイオテクノロジーを活用した技術革新及び国内サプライチェーンの強化を進める。
- (4) 連邦政府が保有する関連データへのアクセスの改善：大規模なコンピューターと AI の活用によるブレイクスルーを目指して、質が高くセキュアかつ広範囲にわたるバイオ関連の情報に対し、バイオテクノロジーを活用した開発を行う者が効率的にアクセスできる体制を確保する。
- (5) 多様なバックグラウンドを持つ高い能力のある人材の育成：バイオテクノロジー及びバイオ製造に関する訓練・教育の機会を拡大する。その中で人種・性別間の公平を進め、支援が足りていないコミュニティにおける人材開発を支援する。
- (6) バイオ製品に係る規制の合理化：価値のある発明や製品が安全性を犠牲にすることなくより早く市場で流通することができるよう、バイオ製品に対する規制手続の明確性・効率性を改善する。
- (7) リスクを低減させるためのバイオセーフティ・バイオセキュリティの進展：バイオテクノロジーの研究開発プロセスで生じるリスクを低減させるために、バイオセーフティに係る応用研究に優先的に資金提供を行いバイオセキュリティに係る技術革新を進める。
- (8) 米国のバイオテクノロジー・エコシステムの保護：ヒトの生物学的情報に関するプライバシー保護やサイバーセキュリティの進展等に加えて、バイオ製造に関するサプライチェーンへの外国からの敵対的な関与によるリスクの軽減対策を進める。
- (9) 同盟国等との協力による世界的に繁栄しかつセキュアなバイオエコノミーの構築：気候変動から健康安全保障に至るまで世界的に喫緊の様々な課題に対応するためのバイオテクノロジーやバイオ製造業の活用における国際協力を進め、バイオ製品の開発及び使用が共有される民主的な倫理・価値と適合し、バイオテクノロジーのブレイクスルーがすべての市民に利益を与えることを確保するために協力する。

このような政府の動きは、バイオ医薬品企業サイドからも好意的に受け止められており、バイオテクノロジーイノベーション協会（Biotechnology Innovation Organization：BIO）は大統領令発出翌日の 9 月 13 日に同イニシアティブを歓迎する声明を発表している⁴。

1.1.2 連邦政府機関の取組

大統領令の発出後、9 月 14 日には大統領府において担当閣僚等による会議が開催され、同日のプレスリリースでバイオテクノロジー・バイオ製造分野に対して合計で 20 億ドルを超える投資を行うこと及び個々の連邦政府機関における取組が発表された。その中で医療に係る主な項目は次のとおりである⁵。

⁴ <https://www.bio.org/press-release/bidens-executive-order-advance-biotechnology-biomanufacturing-prioritizes-science>

⁵ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/statements-releases/2022/09/14/fact-sheet-the-united-states-announces-new-investments-and-resources-to-advance-president-bidens-national-biotechnology-and-biomanufacturing-initiative/>

- (1) 保健福祉省 (Department of Health and Human Services : HHS) が、APIs や抗生物質に加えて、必須医薬品の製造やパンデミックへの対応に必要となる主要な出発原料のためのバイオ製造の役割を拡大するために 4,000 万ドルを投資する。
- (2) 商務省 (Department of Commerce : DOC) 傘下の経済開発局 (Economic Development Administration) が、地域における医薬品のサプライチェーンの再構築等を含めたバイオエコノミーの振興のために 2 億ドルを投資する。
- (3) DOC 傘下の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) 等が関係業界との連携を拡大し、再生医療、バイオ医薬品等の商用化を進める。
- (4) 国立衛生研究所 (National Institute of Health : NIH) 、NIIMBL 等が次世代のバイオテクノロジーの専門家を育成するプロジェクトを立ち上げる。
- (5) 食品医薬品局 (Food and Drug Administration : FDA) における医薬品等の製造の高度化への支援、NIH における新たな臨床試験の実施による遺伝子治療の進展に向けて製造から規制の枠組みの合理化を含めた支援を行う。
- (6) その他、DOC 傘下の国立標準技術研究所 (National Institute of Standards and Technology : NIST) におけるバイオエコノミーに関する計測技術の開発、NIH 等におけるバイオエコノミーの振興に資するデータ共有の枠組みの設立等を行う。

また、大統領科学技術諮問委員会 (President's Council of Advisors on Science and Technology : PCAST) は 2022 年 12 月に、今後バイオエコノミーを進めていくためのバイオ製造のあり方について報告をまとめており、その中で、今後の取組の重点として

- (1) 現在国内に不足しているバイオ製造のインフラを整備するために、DOC が設置するバイオ製造インフラのハブを中心に関係機関が連携し協調して大学等の研究機関への助成等の支援を行うこと
 - (2) 新たなバイオ製品に関する規制を透明化するために、FDA 等の規制当局が連携して分野横断的な製品の審査にも迅速に対応し、適切な情報公開等も進めること
 - (3) 国家科学技術会議 (National Science and Technology Council : NSTC) において向こう 10 年を想定したバイオエコノミーに関する新たな戦略を策定すること、また、DOC 傘下の経済分析局 (Bureau of Economy Analysis) において 2024 年度までにバイオエコノミーに関する経済の規模を示す国民経済計算 (System of National Accounts : SNA) のサテライト勘定を作成し、バイオエコノミーを振興する上で参照する測定基準を確立すること
- の 3 点を挙げている⁶。現時点では医療分野にどの程度影響が及ぶのかについて明らかでないが、今後注視していく必要があるものと思われる。

⁶ https://www.whitehouse.gov/wp-content/uploads/2022/12/PCAST_Biomanufacturing-Report_Dec2022.pdf p9-10

1.2 がんムーンショットイニシアティブの進捗

バイデン政権におけるバイオテクノロジーの活用も含めた医療に関連する大きな取組として、がんムーンショット（Cancer Moonshot）イニシアティブが挙げられる。もともとはオバマ政権時代の 2016 年に、がん治療のさらなる進展を図ることを目的として設立されたものであり、当時のバイデン副大統領がタスクフォースを率いていた。また、21 世紀治療法（21st Century Cures Act）に基づき 2023 年度までに合計で 18 億ドルの予算が確保された⁷。さらに、大統領就任後は、NIH 及び国立がん研究所（National Cancer Institute : NCI）における資金のさらなる確保、新たな研究を推進するための医療高等研究計画局（Advanced Research Projects Agency for Health : ARPA-H）の設置、がんに関する英国との研究協力の推進に取り組んできたが、2022 年になって再始動を発表したものである⁸。

2022 年 2 月 2 日に新たに発表されたイニシアティブでは、

- 今後 25 年でがんによる死亡率を少なくとも 50%減少させること
- がん患者及びその家族がより良い形でがんと共存し生き抜くことができるようにすること
- 上記を通じて、現在知られているようながんを終わらせること

が目標とされた。取組の方向性としては、Covid-19 のパンデミック期間中におけるがん検診の受診機会の減少を受けてがん予防、検査や診断の強化に重点が置かれている他、がんに関する人種、性別、宗教等の間での不公平の是正や患者・家族の支援等に加えて、遺伝情報や免疫反応等の情報を活用した個々の患者に最も適合する治療法が選択できる体制の確立、小児がんを含む死亡率が高く症例数が少ないがんの治療法の進展等が掲げられている。また、大統領府ではがんムーンショット担当の調整官が任命され、担当閣僚会議が設置された⁹。

同イニシアティブの下で研究活動の中心となっている NCI の予算をみると、2023 年度は統合歳出予算法（Consolidated Appropriations Act）により 73 億ドルが措置されている。これは同イニシアティブからの 2 億 1,600 億ドルを含み、2022 年度から全体で 4 億 800 万ドル増加している。同イニシアティブ開始翌年の 2017 年度予算（約 56.9 億ドル）と比較すると約 28.3%の増加である¹⁰。また、他の研究所も含めた NIH 全体としてのがん分野への助成金の額でみると、2022 年度で約 76.4 億ドルと 2017 年度から約 27.8%増加しており、がんゲノム分野の研究への

⁸ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/statements-releases/2022/02/02/fact-sheet-president-biden-reignites-cancer-moonshot-to-end-cancer-as-we-know-it/>
<https://www.nih.gov/research-training/medical-research-initiatives/cures>

⁹ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/statements-releases/2022/02/02/fact-sheet-president-biden-reignites-cancer-moonshot-to-end-cancer-as-we-know-it/>

¹⁰ 2017 年度の予算額は <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-1>、2023 年度の予算額は <https://www.cancer.gov/about-nci/budget> に記載の情報に基づき記載。

助成については約 12.2 億ドルと約 34.5%増加している¹¹。研究の内容面については、NCI のウェブサイトにて 2016 年以降の取組の進捗がまとめられている¹²。そのポイントは次のとおり。

- (1) 免疫療法の改善：卵巣がん、頭頸部がん、膵臓がん等に関して成果が出ている。
- (2) 小児がんの研究の進展：小児がんを含む希少がんに関して患者等も参加したネットワークを立ち上げて、患者からの検体の入手や分析等を含めた研究の迅速化を図る等の取組を進めている。
- (3) 腫瘍マッピング：がんの細胞、構造、分子上の特性をつかむための専門分野の枠を超えたネットワークを立ち上げて、組織や生物検体等の収集・保存、データ共有等の取組を進めている。
- (4) がんの予防・早期検知体制の拡大：個々のイニシアティブを通じて、支援を受けていない住民等への検診の普及や禁煙療法プログラムの実施等を進めている。
- (5) 患者との連携：がんに関する臨床研究に患者自身が積極的に参加する新たな取り組みが進められており、例えば中枢神経系の希少がんに関してネットワークを立ち上げ、患者自身が自らのがんについて学ぶことができる体制をとっている。また、希少がん、死亡率の高いがん、特定の住民のみに生じるがん等に関するゲノムシーケンシングを進め、将来的な予防・治療につなげることを目指している。
- (6) 薬剤耐性への対応：がんの治療耐性の問題に対応して研究者コミュニティの間で情報共有を進めるためのネットワークを立ち上げ、腫瘍の薬剤耐性を研究する新たな実験モデルの開発等を進めている。
- (7) がんの情報の収集・共有：研究者・医療者の双方によるさまざまな情報の共有等を目指して、NCI のクラウド上の情報源を活用しつつ新たな分析を可能とする体制を整備している。
- (8) 連携とアウトリーチ：連邦エネルギー省（Department of Energy）、FDA 等他の連邦政府機関や医薬品企業等の多様な主体との連携・協力関係を構築している。

その他、上述の担当閣僚会議に参加している省庁を中心として、民間企業、非営利団体、研究機関等を含めた広範な取組が進められている。そのうち、イニシアティブの成果として公表さ

¹¹ <https://report.nih.gov/funding/categorical-spending/> における FY2017 及び FY2022 のデータを計算した結果を記載。なお、左記ページの注記に明示されているように、これらの助成額は関連プロジェクトへの助成額を積み上げたものであるが、どの研究分野に属するののかについては一定の前提を置いて機械的に振り分けられているため、複数の分野に重複して計上されているプロジェクトもあることに留意する必要がある。

¹² <https://www.cancer.gov/research/key-initiatives/moonshot-cancer-initiative/progress>

れている主な取組のうちバイオテクノロジーも含めた研究開発と関係すると思われるものは次のとおりであり¹³、また、NCI を中心として日米の研究協力も積極的に進められている^{14,15}。

- 国防総省（Department of Defense : DoD）及び退役軍人省（Department of Veteran Affairs : VA）の関連病院において NCI の協力の下に一部のがんに関連してプロテオゲノミクス（タンパク質とゲノムの解析）を応用した治療法を 2016 年以降開発してきたが、今回新たに対象をすべてのがんに拡大し、実施病院数も拡大することとした¹⁶。
- 米特許商標局（United States Patent and Trademark Office : USPTO）が、がんの検知や治療のための技術に関する特許出願の審査を迅速に行い、がんの免疫療法に関する特許の審査時間を半減させる試行プログラム（Cancer Moonshot Expedited Examination Pilot Program）の 2023 年 2 月からの実施を発表した¹⁷。
- Amazon Web Services において、小児脳腫瘍の新たな治療法の開発を加速化するために Children’s Brain Tumor Network との連携を拡大し、診療記録、画像やゲノム情報等についてほぼリアルタイムで共有できるようになった¹⁸。
- ワシントン D.C.に拠点を置く非営利のがん研究シンクタンクである Friends of Cancer Research において、血中循環腫瘍 DNA（ctDNA）をモニターして治療法への反応の情報を共有すること等を通じて新たな治療法を開発するためのデータ共有の取組を始めた¹⁹。

なお、同プロジェクトに対する製薬業界の反応としては、米国研究製薬工業協会（Pharmaceutical Research and Manufacturers of America : PhRMA）は会長声明²⁰及びプレスリリース²¹において、大統領の取組を基本的には評価しつつ、これまで医薬品企業が開発してきた新たな治療法によりがんの死亡率が大幅に改善してきていること、また、様々ながんに対する 1,300 を超える医薬品やワクチンが現在開発中であり臨床試験の実施中または FDA の審査待ちであることを明らかにしている。一方で、同プロジェクト発表時点で連邦議会において導

¹³ 以下、がんムーンショットに関連してホワイトハウスが 2022 年に公表したファクトシート（DoD 及び VA（3 月）：<https://www.whitehouse.gov/ostp/news-updates/2022/03/17/fact-sheet-white-house-announces-initial-steps-for-reignited-cancer-moonshot/>）／その他（12 月）：<https://www.whitehouse.gov/ostp/news-updates/2022/12/08/fact-sheet-white-house-details-progress-from-the-cancer-cabinet-and-private-sector-during-cancer-moonshot-week-of-action/>）から抜粋し、追加の情報源を附記した。

¹⁴ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/statements-releases/2022/05/23/fact-sheet-the-u-s-japan-competitiveness-and-resilience-core-partnership/>

¹⁵ https://proteomics.cancer.gov/news_and_announcements/nci-welcomes-renewed-commitments-cancer-moonshot-japan-and-republic-korea

¹⁶ <https://www.defense.gov/News/News-Stories/Article/Article/3017826/dod-reignites-cancer-research-initiative-to-end-cancer-as-we-know-it-today/#:~:text=The%20APOLLO%20Network%2C%20created%20in,pancreatic%2C%20testicular%20and%20Obrian%20cancers.>

¹⁷ <https://www.uspto.gov/patents/initiatives/patent-application-initiatives/cancer-moonshot-expedited-examination>

¹⁸ <https://aws.amazon.com/jp/blogs/industries/advance-pediatric-care-using-amazon-healthlake-for-scalable-fhir-based-data-analytics/>

¹⁹ <https://friendsofcancerresearch.org/news/new-manuscript-shows-changes-in-ctdna-reflect-clinical-benefit-to-patients/>

²⁰ <https://phrma.org/resource-center/Topics/Cancer/PhRMA-Statement-on-White-House-Cancer-Moonshot-Event>

²¹ <https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Org/PDF/0-9/4-Things-To-Know-About-Biopharmaceutical-Efforts-To-Fight-Cancer-2.pdf>

入が議論されていた政府による薬価制度改革を念頭に、政府が薬価をコントロールすることで革新的な医薬品の開発を阻害すると主張している。同様の趣旨の声明は BIO も発表している²²。

1.3 インフレ削減法（IRA）における薬価制度改革に関する議論

上述のようにバイオ医療やバイオ医薬品業界の振興につながる政策が進められる一方で、最近ではバイオ医薬品企業を中心に製薬業界全体からの大きな反発を呼んだ事態も生じている。バイデン大統領が就任した 2021 年に連邦議会に提出されたものの結果的に不成立となったビルド・バック・ベター法案（Build Back Better Bill : BBBB）の中に、メディケアにおける薬価制度改革が盛り込まれていたが、同法案の内容を大きく変更した上で薬価制度改革については概ね取り入れたインフレ削減法（Inflation Reduction Act : IRA）が 2022 年 8 月に成立した。同法は、エネルギー安全保障や気候変動対策、一般に「オバマケア」と呼ばれるアフォーダブルケア法（Affordable Care Act）に基づく補助金の延長等による歳出増を、最低法人税率の引き上げ等に併せて薬価制度改革で賄いトータルで財政赤字の削減を図る²³ものであるが、医薬品業界に一定の負担を強いるものとなっている。以下、同法における薬価制度改革の内容等についてまとめた。

1.3.1 IRA における薬価制度改革の内容

IRA による薬価制度改革は、メディケアのパート B（対象：投薬を含めたクリニックにおける外来診療）、さらにパート D（対象：処方薬）に加入している被保険者の負担を軽減するものであり、その主な内容は次のとおりである。なお、各項目は今後順次施行されることとなっている²⁴。

- (1) インシュリン投与に係る自己負担について毎月 35 ドルを上限とし、免責額（deductible）をゼロとする
- (2) パート D に加入するための助成金プログラムの対象を一定の低所得層に拡大する
- (3) パート D に係る自己負担について年 2,000 ドルを上限とする
- (4) その他、帯状疱疹のワクチンを含めて無料で受けられるワクチンの範囲を拡大する 等

また、上記のような被保険者の直接的な負担軽減に加えて、連邦政府が薬価について医薬品企業との間で交渉する新たな仕組みが導入された。メディケアパート D はジョージ・W・ブッシュ政権時代の 2003 年に「メディケア処方薬・改善及び近代化法（Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act of 2003）」により創設、2006 年に施行されたものであり²⁵、その中で、民間における競争を促進する観点から、保健福祉長官は、医薬品企業と薬局・パート D のプランを扱う事業者との間の交渉に干渉したりパート D において特定の医薬品のリ

²² <https://www.bio.org/gooddaybio-archive/good-day-bio-why-cancer-moonshot-might-never-take>

²³ <https://www.congress.gov/bill/117th-congress/house-bill/5376>

²⁴ <https://www.medicare.gov/about-us/inflation-reduction-act>

²⁵ <https://www.congress.gov/bill/108th-congress/house-bill/1>

ストの義務づけや価格構造の設定を行ったりすることが禁止されていた²⁶が、連邦政府として医薬品の価格コントロールが十分にできないという点が問題視されてきた。それが、今回の IRA により、保健福祉長官に対して医薬品企業との交渉が義務づけたのである²⁷。

なお、交渉の対象となる医薬品については、次のものは除外されている。

- (1) 既にジェネリック医薬品やバイオシミラー医薬品が存在している医薬品
- (2) FDA 承認等の後一定期間を超えていない医薬品（小分子薬：9年、バイオ医薬品：13年）
- (3) バイオ医薬品のうちパート D 又はパート B の支出の 1%以下かつ当該製造企業の医薬品の中でそれぞれのパートごとに占める割合が 80%以上のもの（*2029年までの経過措置）
- (4) 2021年にメディケアからの支出が 2億ドル（2022年以降は物価スライド後の額）を超えない医薬品
- (5) 希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の指定を受けた医薬品
- (6) 全ての血漿由来製品

また、上記の他、バイオ医薬品については、バイオシミラー医薬品が市場に投入される可能性がある場合は最大で 2年間選定を猶予することとなっている²⁸。これらを除いた医薬品のうち、2023年にはパート D から 10品目の医薬品が選定されて交渉が行われ、2026年には交渉後の価格が適用されることになる。その後、対象となる医薬品数は 2027年適用分から 15品目、2029年適用分からは 20品目となり、2028年適用分からはパート B から選定される予定となっている²⁹。対象となる医薬品はその時点でのメディケアパート D（又はパート B）からの支出が最も多い 50品目から選定され、各年に交渉対象となり新価格が適用された医薬品はそのまま累積していく形となる。交渉に当たってはカテゴリーごとに一定の価格上限が定められることになる他、交渉に応じない場合にはメディケアからの償還額が税の徴収の形で 65~95%減額される。なお、医薬品企業としては、当該医薬品をメディケアの対象からは必ず選択肢もある^{30,31}。

²⁶ 合衆国法典（U.S.C.）第 42 編 1395w-111 (i)

([https://uscode.house.gov/view.xhtml?req=\(title:42%20section:1395w-111%20edition:prelim\)%20OR%20\(granuleid:USC-prelim-title42-section1395w-111\)&f=treesort&edition=prelim&num=0&jumpTo=true](https://uscode.house.gov/view.xhtml?req=(title:42%20section:1395w-111%20edition:prelim)%20OR%20(granuleid:USC-prelim-title42-section1395w-111)&f=treesort&edition=prelim&num=0&jumpTo=true))

²⁷ <https://www.factcheck.org/2022/08/medicare-prescription-drug-provisions-of-inflation-reduction-act/>

²⁸ <https://www.kff.org/medicare/issue-brief/explaining-the-prescription-drug-provisions-in-the-inflation-reduction-act/#bullet05>

²⁹ <https://www.medicare.gov/about-us/inflation-reduction-act>

³⁰ <https://www.kff.org/medicare/issue-brief/explaining-the-prescription-drug-provisions-in-the-inflation-reduction-act/#bullet05>

³¹ なお、薬価交渉制度の他に、一定の要件を満たす医薬品の薬価（メディケアから償還される額）の上昇が全体的な物価上昇分を上回った場合には、当該医薬品を製造した企業にレポートの提供等を義務づけている

(<https://www.kff.org/medicare/issue-brief/explaining-the-prescription-drug-provisions-in-the-inflation-reduction-act/#bullet05>)。医薬品企業の負担増は間接的なものにとどまるため本文では触れていないが、利潤を抑制するという観点では同じ方向性のものである。

1.3.2 医薬品業界からの反発と今後の見通し

IRA の制定に当たって共和党は一貫して反対し、上院の裁決では 50 対 50 となって最終的に上院議長でもあるハリス副大統領の投票にまで持ち込まれた³²。製薬業界からも大きな反発を受けており、BIO や PhRMA は、議会における審議から法律の成立までの動きと並行して、同法により新たな治療方法の研究開発が阻害されて患者がそれらを利用できなくなると批判する声明を出している^{33,34}。また、BIO からの資金を受けて作成された BBBB への反論ペーパーが 7 月 28 日に公表されており、12 社のバイオ医薬品企業が開発した合計で 20 の治療方法に対する BBBB による影響の試算に基づき、過去 10 年間で FDA の承認を受けた 110 品目の新しい治療方法のうち、今回の薬価制度改革を受けてなお開発中止のリスクが無いと思われるものがわずか 6 品目にすぎないと主張している³⁵。これは、IRA に対する共和党サイドからの批判の中でも引用されている³⁶。一方、議会予算局（Congressional Budget Office : CBO）は 2022 年 7 月に、今後 30 年間で約 1,300 品目の医薬品の承認が見込まれる中で、IRA の影響により新医薬品の開発数が減少するのは 10 年ごとに 2 品目、5 品目そして 8 品目にすぎないと試算結果を公表している³⁷。これらの試算は両極端の結論となっているが、いずれにせよ、具体的にどの医薬品が対象となるのかが明確にならないと、それらを利用している患者の負担軽減も含めて具体的な影響について明確な評価はできないものと思われる。一方、PhRMA では、上記の声明の中で、今後あらゆる機会を捉えて新たな制度による悪影響を軽減し、患者により良い入手可能な治療を提供して技術革新を支援する取組を継続すると表明しており、その後も 2022 年 11 月には、IRA による制度改革が薬事承認後の研究に悪影響を与える可能性を指摘し³⁸、ウェブ上のイベントでいかに IRA がバイオ医薬品の研究開発や患者の医療へのアクセスを阻害しているかを会長が主張するなど³⁹、引き続き反対していく姿勢を崩していない。

2 国立衛生研究所（NIH）を中心とする米政府における研究開発助成動向

2.1 国立衛生研究所（NIH）

国立衛生研究所（National Institute of Health : NIH）は保健福祉省（Department of Health and Human Service : HHS）傘下の研究機関であり、「保健衛生の向上、寿命の延伸及び疾病・障害の減少のために、生命体の性質及びふるまいに関する基本的な知識並びに当該知識の応用を追求すること」をミッションとし、調査研究の実施・支援を通じて国民の健康を向上さ

³² https://www.senate.gov/legislative/LIS/roll_call_votes/vote1172/vote_117_2_00325.htm

³³ <https://www.bio.org/press-release/final-reconciliation-package-disservice-patients-and-researchers>（←左記は一例であり、BIO ではこの前にも法案に反対する声明を多数発表している。）

³⁴ <https://phrma.org/resource-center/Topics/Access-to-Medicines/PhRMA-Statement-on-the-Inflation-Reduction-Act-Becoming-Law>

³⁵ https://vitaltransformation.com/wp-content/uploads/2022/08/BBBA_VT_FINAL_8.5.1.pdf

³⁶ <https://www.factcheck.org/2022/08/medicare-prescription-drug-provisions-of-inflation-reduction-act/>

³⁷ https://www.cbo.gov/system/files/2022-07/senSubtitle1_Finance.pdf

³⁸ <https://catalyst.phrma.org/new-government-price-setting-policy-threatens-post-approval-research>

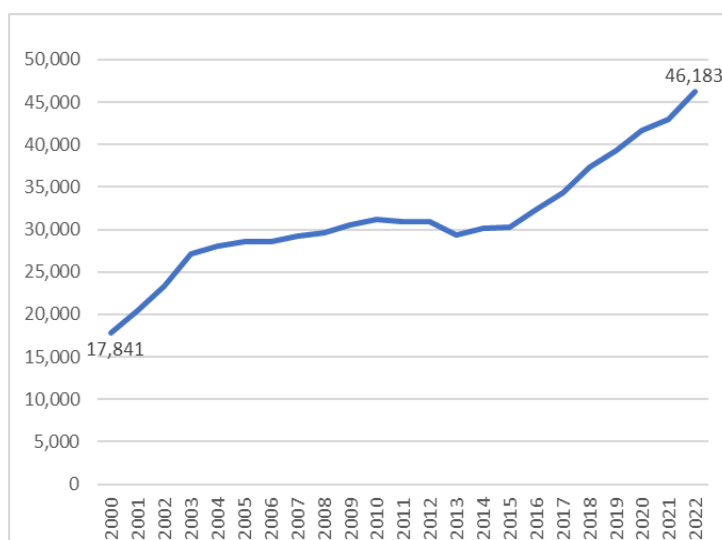
³⁹ <https://phrma.org/resource-center/Topics/Economic-Impact/The-Inflation-Reduction-Act-Unfinished-Business>

せるためのプログラムを主導している⁴⁰。1887年に海軍病院に設置された細菌学の研究室が1891年にワシントン D.C.地域に移設されて以来、カバーする研究分野は拡大を続け⁴¹、現在では合計で27の研究所・センターを擁しており、自ら行う研究に加えて世界最大規模の資金助成を通じて医学分野の調査研究に関して最も権威のある地位を築いている⁴²。具体的には、24の研究所・センターが大学等に対する助成制度を有しており⁴³、2021年度では、新規・継続を合わせて5万6,700件を超えるプログラムの下で、米国内外の合計2,696の大学、病院、中小企業その他の組織にいる30万人を超える研究者への助成を行っている⁴⁴。NIHの予算中の割合でみるとNIH関連研究所外への助成金が占める割合が約83%である⁴⁵。また、NIHに所属またはその資金から支援を受けていた約170人の研究者が2022年時点でこれまでにノーベル賞を受賞している⁴⁶。

2.1.1 NIH全体の予算額の推移

図表1：NIH予算額（FY2000-FY2022）の推移

（単位：百万ドル）



出所：Congressional Research Serviceの資料⁴⁷を基にワシントンコア作成

毎年度のNIH予算額（当初予算ベース）は全体でみて2003年度から2015年度まではほぼ横ばいであったが、それ以降急増しており、2022年度予算では約462億ドルとなっている⁴⁸。なお、

⁴⁰ <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/mission-goals>

⁴¹ <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/chronology-events>

⁴² <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/about-nih-almanac>

⁴³ <https://grants.nih.gov/aboutoer/intro2oer.htm>

⁴⁴ <https://www.nih.gov/news-events/nih-research-grants-digital-press-kit>

⁴⁵ <https://report.nih.gov/nihdatabook/report/283>

⁴⁶ <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/nobel-laureates>

⁴⁷ <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R43341>, p8-9

⁴⁸ なお、2023年度予算については、連邦議会に提出された大統領予算案ベースでは約635億ドルまで急増している。

2013 年前後の実額の減少及び継続したインフレの進行のために、予算額の実質的な購買力は 2003 年度をピークに 2015 年度までに 3 割近く減少したが、その後の実額の急増により 2021 年度の時点で 2003 年度の水準を超えている⁴⁹。また、2020 年度及び 2021 年度は Covid-19 対応等に関する補正予算（CARES Act 等によるもの）により合計で約 48 億ドルが NIH に対して手当てされている⁵⁰。

2.1.2 各研究所・センターの状況

NIH は 27 の独立した研究所・センターにより組織されており⁵¹、それらを所長事務局（Office of Director : OD）が統括している。各研究所・センターのうち臨床センター（Clinical Center : CC）、情報技術センター（Center for Information Technology : CIT）及び科学審査センター（Center for Scientific Review : CSR）の 3 センターを除く 24 の研究所・センター並びに独立した予算が計上されている OD 及び建物・施設部門（B&F）を含む 26 部門における予算額の推移は下記図表のとおりである。

図表 2 : NIH 予算額の推移（各部門別）

（単位：1,000 ドル）

	FY2017	FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022 (*)
国立がん研究所 (NCI)	5,689,329	5,964,800	6,143,892	6,440,442	6,539,696	6,559,852
国立心臓・肺・血液研究所 (NHLBI)	3,206,589	3,383,201	3,488,335	3,624,258	3,653,700	3,664,811
国立歯科研究所 (NIDCR)	425,751	447,735	461,781	477,429	483,387	484,867
国立糖尿病・消化器・腎研究所 (NIDDK)	2,010,245	2,120,797	2,179,823	2,210,889	2,275,530	2,273,425
国立神経異常・発作研究所 (NINDS)	1,783,654	2,188,149	2,274,413	2,444,687	2,503,517	2,513,393
国立アレルギー感染症研究所 (NIAID)	4,906,638	5,260,210	5,523,324	5,885,470	6,048,849	6,069,619
国立一般医学研究所 (NIGMS)	2,650,838	2,785,400	2,872,780	2,937,218	2,986,253	2,991,417
国立小児・人間発達研究所 (NICHD)	1,380,295	1,452,006	1,506,458	1,556,879	1,588,197	1,590,337
国立眼科研究所 (NEI)	732,618	772,317	796,536	824,090	833,012	835,714
国立環境健康科学研究所 (NIEHS)	791,610	828,492	852,056	883,598	893,722	896,175
国立老化研究所 (NIA)	2,048,610	2,574,091	3,083,410	3,543,673	3,888.22	3,899,227
国立関節炎・筋肉・皮膚研究所 (NIAMS)	557,851	586,661	605,065	624,889	632.382	634,292
国立聴覚・伝達障害研究所 (NIDCD)	436,875	459,974	474,404	490,692	496,578	498,076

⁴⁹ <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R43341>, p8-9

⁵⁰ <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R43341>, p17-18。なお、その他、American Rescue Plan Act of 2021 では、NIH に直接ではないが保健福祉長官等経由で手当てされ得る予算も計上されている。

⁵¹ <https://www.nih.gov/institutes-nih/list-institutes-centers>

	FY2017	FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022 (*)
国立精神衛生研究所 (NIMH)	1,601,931	1,754,775	1,870,296	2,038,374	2,099,736	2,103,708
国立薬物乱用研究所 (NIDA)	1,090,853	1,383,603	1,419,844	1,462,016	1,475,867	1,479,660
国立アルコール乱用・依存症研究所 (NIAAA)	483,363	509,573	525,591	545,373	553,216	554,923
国立看護研究所 (NINR)	150,273	158,033	162,992	169,113	174,411	174,957
国立ヒトゲノム研究所 (NHGRI)	528,566	556,881	575,579	606,349	614,163	615,780
国立画像生物医学・生物工学研究所 (NIBIB)	357,080	377,871	389,464	403,638	409,493	410,728
国立マイノリティ健康格差研究所 (NIMHD)	289,069	303,200	314,679	335,812	390,413	390,865
国立補完統合医療センター (NCCIH)	134,689	142,184	146,473	151,740	153,616	154,162
国立先進トランスショナル科学センター (NCATS)	705,903	742,354	806,373	832,888	852,853	855,421
フォギーティ国際センター (FIC)	72,213	75,733	78,109	80,760	83,761	84,044
国立医学図書館 (NLM)	407,510	428,553	441,997	456,911	460,746	463,787
所長事務局 (OD)	1,729,783	1,925,893	2,117,675	2,409,387	2,521,605	2,519,401
建物・施設 (B&F)	128,863	128,863	200,000	200,000	199,400	200,000
総計	34,300,999	37,311,349	39,311,349	41,636,575	42,812,323	42,918,641

出所：NIH 資料^{52,53}を基にワシントンコア作成

*FY2022 は本予算成立前の Continuing Resolution⁵⁴ベースの数値であることに留意

予算規模は、国立がん研究所 (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)、国立老化研究所 (National Institute on Aging : NIA)、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) が続く。上述のとおり、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助成も増加している (下記)。また、直接の助成以外にも、国立医学図書館 (National Library of Medicine : NLM) においてバイオテクノロジー情報センター (National Center for Biotechnology Information) を設立してバイオテクノロジー関連の研究資料を一般に公開する⁵⁵などの体制も整っている。2022 年度における 24 の研究所・センターに所長事務局を加えた各部門別の予算は、下記図表のとおりである。

⁵² <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-1/>

<https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-almanac/appropriations-section-2> (FY2020 まで)

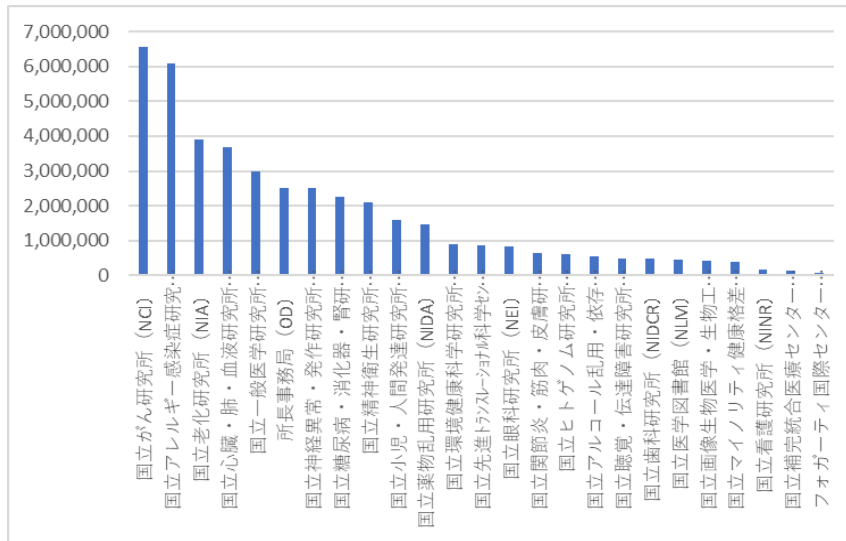
⁵³ <https://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY23/br/Overview%20of%20FY%202023%20Presidents%20Budget.pdf>, p86 (FY2021 から)

⁵⁴ Continuing resolution は、予算が年度当初までに成立しない場合に、連邦議会が各省庁の予算執行を暫定的に認めるつなぎとして行う予算継続決議のこと。

⁵⁵ <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/>

図表 3 : NIH 各部門別予算の比較 (FY2022)

(単位 : 1,000 ドル)



出所 : NIH の資料⁵⁶ (Continuing Resolution ベース) を基にワシントンコア作成

2.1.3 NIH の研究事業における Intramural Research と Extramural Research の関係

NIH では、研究所内研究 (Intramural Research) と研究所外研究 (Extramural Research : 大学等への助成金の支給等) が車の両輪としてそれぞれの分野における医学研究を推進しているが、2021 年度予算に計上された予算で見ると、前者が約 72 億 5,700 万ドル、後者が約 344 億 700 万ドルであり、研究所外への助成金が全体の約 83%を占める⁵⁷。このうち研究所内研究については、27 の研究所・センターを抱える研究所として、各研究所等に所属している約 1,200 人の主任研究者 (Principal Investigator) が中心となって広範囲の部門横断型の研究を行う体制が出来ている。特に、240 床のベッドを有する医療機関である臨床センター (CC) において臨床研究を行う体制ができているということが大きい⁵⁸。バイオテクノロジー関連では、例えば、再生・細胞医療の分野において NIH 内の研究者の共同研究が重点的に行われている⁵⁹。一方、研究所外研究については、助成金を予算化している各研究所・センターにおいてそれぞれ助成を行っているが、全体として科学的な誠実性や一般への説明責任を確保し NIH 全体としての研究所外研究に向けた方針を効果的に実施していくため、所長事務局 (OD) の下に研究所外研究管理室 (Office of Extramural Research) を設置している。同室では、研究所全体としての助成手続の管理に加えて、助成金受給者に対する各種の情報提供その他の支援も行っており、研究所外の研究者との間の情報共有の橋渡し役となっている⁶⁰。

⁵⁶<https://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY23/br/Overview%20of%20FY%202023%20Presidents%20Budget.pdf>, p86

⁵⁷<https://report.nih.gov/nihdatabook/report/283>

⁵⁸<https://irp.nih.gov/about-us/what-is-the-irp>

⁵⁹<https://irp.nih.gov/our-research/accelerating-science/creating-cell-based-therapies>

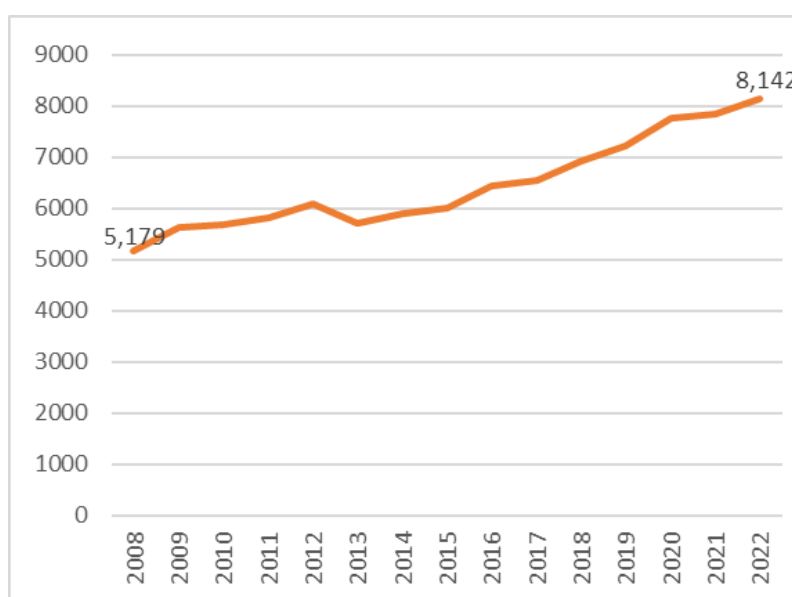
⁶⁰<https://grants.nih.gov/aboutoer/intro2oer.htm>

2.1.4 NIHからのバイオテクノロジー分野への助成の状況と医薬品開発における NIH の役割

NIH が公表している各分野における大学等への助成金の推計額の推移をみると、バイオテクノロジー分野への助成額については、データが入手可能であった 2008 年度以降では継続的に増加しており、2022 年度には助成総額が約 81.4 億ドルとなっている。また、NIH 内の主な研究所ごとの内訳は、入手可能な最新データである 2021 年度の状況をみると、助成総額約 78.5 億ドルのうち NIAID、NCI 及び NIGMS の 3 つの研究所からの助成額が全体の半数を占めている。

図表 4： NIH のバイオテクノロジー分野への助成額推計（FY2008-FY2022）

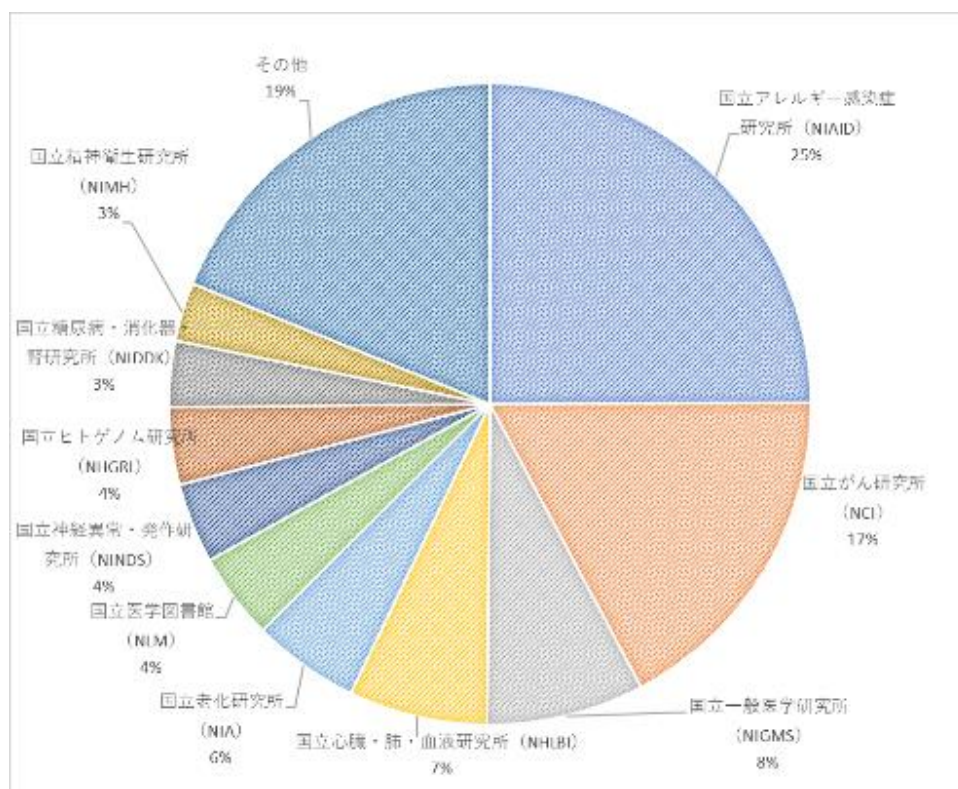
（単位：百万ドル）



出所：NIH の資料⁶¹を基にワシントンコア作成

⁶¹ <https://report.nih.gov/funding/categorical-spending/>：なお、左記ページの注記に明示されているように、これらの助成額は関連プロジェクト（例：2021 年度の採択件数は 14,243 件）への助成額を積み上げたものであるが、どの研究分野に属するののかについては一定の前提を置いて機械的に振り分けられているため、複数の分野に重複して計上されているプロジェクトもあることに留意する必要がある。

図表 5：NIH のバイオテクノロジー分野への助成額推計：研究所ごとの割合（FY2021）



出所：NIH の資料⁶²を基にワシントンコア作成

バイオ医薬品を含む医薬品等に関する研究開発は、基礎的な科学研究において得られた知見（新たに発見された分子化合物等や理解が進んでいない疾病の機序等）の臨床応用の研究から具体的な医薬品等の開発につなげ、最終的には食品医薬品局（Food and Drug Administration：FDA）の認可を経て製品化に至る流れとなる。その中で、NIH 等の公的機関の役割は、おおむね前半の基礎研究の実施及びそれらに対する助成等の支援に重点が置かれ、臨床応用から製品化に向けた研究については、製品開発を行う民間企業自身又は当該企業に対する投資家が資金投入を行っているのが一般的な実態である⁶³。その意味で、医薬品等の開発に当たっては NIH 等の公的機関と民間企業が補完的に関係にあると言われている⁶⁴。一方、NIH からの研究助成は、大学等の非営利研究機関に加えて小規模の民間企業による研究も助成対象としている⁶⁵。また、研究成果の商用化に向けた支援を行うプログラムを小規模民間企業⁶⁶及び

⁶² <https://report.nih.gov/funding/categorical-spending#/のうち>、2021 年度に採択された Biotechnology 関係の個々のプロジェクトに対する助成額を研究所別に集計したもの。

⁶³ なお、Covid-19 関連の検査、ワクチン、治療方法等に関する研究に対しては NIH が主導的な役割を果たしており（<https://covid19.nih.gov/>）、CARES Act 等を通じてこれまでほぼ 49 億ドルが研究助成関連予算として確保されている（https://covid19.nih.gov/funding?org_state=）。ワクチン開発の極めて短期間での成功にも NIH による助成が貢献していると評価されている（<https://www.aamc.org/news-insights/front-lines-advocating-academic-medicine>）。

⁶⁴ <https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Refresh/Industry-Profile-2022/The-Role-of-NIH-and-Industry-in-the-Research-and-Development-of-New-Medicines-3.pdf>

⁶⁵ <https://seed.nih.gov/small-business-funding/small-business-program-basics>

⁶⁶ <https://seed.nih.gov/support-for-small-businesses/commercialization-enhancement-programs>

一部の大学⁶⁷を対象として実施する等の取り組みを進めている他、2012年に設置された国立先進トランスレーショナル科学センター（National Center for Advancing Translational Sciences : NCATS）では、新たな治療方法等を国民により迅速に提供できるようにするために、基礎から臨床、商用化に進む上での研究に当たってのボトルネックの削減、除去や回避を可能とするためのソリューションの開発を担当している⁶⁸。

2.1.5 新たな動き

医療高等研究計画局（ARPA-H）の設立

上述のとおり NIH では、医学に関する基礎研究の支援に重点を置きつつ、研究を通じて開発された医療技術や医薬品等の商品化に向けての支援にも力を入れてきているが、バイデン政権では、「基礎研究と商用化された製品を支援する通常的手法における古い殻を打ち破ること」⁶⁹を目的として、既存のプロセスからさらに柔軟性、スピード等を上げていくことを念頭に医療高等研究計画局（Advanced Research Projects Agency for Health : ARPA-H）を立ち上げた。新組織の具体的な所属先については、連邦議会が保健福祉長官に対して同省内のどこに置くのか判断するように求めていたが、同長官は2022年5月に NIH 内に置くことと決定した上で、新たに就任する同局の局長は NIH 所長ではなく同長官の直属となることが発表された⁷⁰。その後、同10月に初代の局長が着任している⁷¹。関連予算としては、2022年度予算に向けた大統領からの予算要求の中では65億ドルが計上されたが、最終的には10億ドルとされ、2023年度予算に向けた要求では50億ドルが要求されている。ARPA-Hの役割は、国防総省（Department of Defense : DoD）の国防高等研究計画局（Defense Advanced Research Projects Agency : DARPA）をモデルとしつつ、ポテンシャルが高く大きな影響が見込まれるものの、従来の手法では対応が困難な問題に対して新たな手法で取り組むこと、最先端であるがリスクの高い探究的な研究や金銭的なインセンティブが小さいため、商用化まで進めることが困難な研究を重点的に支援することである。今後、フラットかつ機敏な組織形態の下で、独立性・自律性の高い形で助成金の支給決定が行われることとなる^{72,73}。

助成金を受けた研究者に対するデータ共有の義務づけ

NIH では、データ共有方針（Data Sharing Policy）を2003年に施行しており、直接経費が年間50万ドル以上の研究プロジェクトに関する助成を NIH から受けた研究者は、他の研究者にも研究データを利用可能にすることが義務づけられてきた⁷⁴。また、研究所内研究においては、既

⁶⁷ <https://seed.nih.gov/programs-for-academics/academic-entrepreneurship-and-product-development-programs/reach>

⁶⁸ <https://ncats.nih.gov/about/center>

⁶⁹ <https://www.whitehouse.gov/briefing-room/speeches-remarks/2022/03/18/remarks-by-president-biden-before-a-discussion-with-researchers-and-patients-on-advanced-research-project-agency-for-health-arpa-h/>

⁷⁰ <https://www.hhs.gov/about/news/2022/05/25/hhs-secretary-becerra-establishes-arpa-h-within-nih-names-adam-h-russell-phil-acting-deputy-director.html>

⁷¹ <https://twitter.com/SecBecerra/status/1579878061620703233>（保健福祉長官の Twitter への投稿）

⁷² <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R43341>, p5-6, p11

⁷³ <https://arpa-h.gov/about/about-arpa-h/>

⁷⁴ <https://sharing.nih.gov/data-management-and-sharing-policy/about-data-management-and-sharing-policies/data-management-and-sharing-policy-overview#before>

にゲノムデータや臨床試験の結果等に関して幅広くデータ共有が行われている⁷⁵。このような研究者間のデータ共有について、2023年1月25日から予算額の要件撤廃を含めて新たにデータ管理・共有方針（Data Management and Sharing Policy）が施行され、NIHから助成を受けた全ての研究者について、データをNIHに対して提供する義務が課され⁷⁶、NIHは収集したデータを一般に公開することになる。この方針自体については、関係者から概ね評価されているところであるが、懸念事項として研究者における事務的負担の重さが指摘されており⁷⁷、NIHでは助成申請に当たってのデータ管理・共有計画の提出等の詳細等について、きめ細かく情報発信を行っているところである⁷⁸。

2.2 生物医学先端研究開発局（BARDA）

生物医学先端研究開発局（Biomedical Advanced Research and Development Authority：BARDA）は、HHS傘下の戦略的事前準備・対応局（Administration for Strategic Preparedness and Response：ASPR）内の一部局である。ASPRは、2006年に成立したPandemic and All-Hazards Preparedness Act（PAHPA：Public Law No. 109-417）に基づき設置され⁷⁹、災害その他の緊急事態に対する医学的・公衆衛生的な観点からの事前準備、対応や被害からの回復に関する事業を主導している⁸⁰。BARDAは其中で、化学、生物、放射線及び核（Chemical, Biological, Radiological and Nuclear：CBRN）事故等、さらにインフルエンザのパンデミックや新興感染症等の公衆衛生的・医学的な緊急事態への対応のために、必要なワクチン、医薬品、治療方法や診断ツールの開発を担当している⁸¹。特に、医薬品等の開発に当たって、FDAの認可等を含めた全体的なプロセスを通して商品化に向けた統合的・体系的な取り組みを行うなど、民間企業とのパートナーシップを組んで事業を行うことが特色であり、BARDAの直近の戦略計画（Strategic Plan 2022-2026）においても、4つの目標（Goal）として、事前準備（Preparedness）、対応（Response）、職員（Workforce）に加えて企業との連携（Partnership）が挙げられている^{82,83}。

2.2.1 BARDAの予算額の推移

BARDAの予算については、公衆衛生・社会サービス緊急基金（Public Health and Social Services Emergency Fund）から支弁されている近年の当初予算額をみると、毎年おおむね5～6億ドル程度が計上されてきており、2022年当初予算（Continuing Resolutionベース）では5億9,670万ドルであったが、特に2020年と2021年はそれぞれパンデミック対応のために約180

⁷⁵ <https://oir.nih.gov/sourcebook/intramural-program-oversight/intramural-data-sharing>

⁷⁶ <https://sharing.nih.gov/data-management-and-sharing-policy/about-data-management-and-sharing-policies/data-management-and-sharing-policy-overview#after>

⁷⁷ <https://www.nature.com/articles/d41586-022-00402-1#:~:text=In%20January%202023%2C%20the%20US,make%20their%20data%20publicly%20available>

⁷⁸ <https://sharing.nih.gov/>

⁷⁹ <https://aspr.hhs.gov/legal/pahpa/Pages/default.aspx>

⁸⁰ <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/Pages/default.aspx>

⁸¹ <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/ProgramOffices/BARDA/Pages/default.aspx>

⁸² <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/ProgramOffices/BARDA/Pages/Doing-Business-with-BARDA.aspx>

⁸³ <https://www.medicalcountermeasures.gov/media/38717/bar-da-strategic-plan-2022-2026.pdf>, p3-4

億ドル、約 249 億ドルという巨額の補正予算が計上されていた^{84,85}。例えば、Covid-19 ワクチンの開発を目指して HHS が主導した「Operation Warp Speed」により、関係省庁が協力した上で BARDA を経由して 2021 年 3 月の時点で 190 億ドルを超える額がワクチンを開発している企業 7 社に対して交付されている⁸⁶。

2.2.2 連邦政府全体としての取り組みと其中での BARDA の果たす役割

連邦政府では、公衆衛生的・医学的な緊急事態への対応を目的として、ASPR が主導する公衆衛生緊急事態医学的対応組織（Public Health Emergency Medical Countermeasures Enterprise：PHEMCE）を立ち上げており、その中で、CBRN の脅威への対応や新興感染症に一元的に対応できる体制をとっている。ASPR の他に参加している機関は、NIH 及び FDA に加えて、疾病対策予防センター（Centers for Disease Control and Prevention：CDC）、DoD 及び国家安全保障省（Department of Homeland Security：DHS）である⁸⁷。同組織の活動の一環として、BARDA では、非営利組織である Global Health Investment Cooperation（GHIC）と協力し、公衆衛生上の危機への対応を目的とした医療技術や医薬品の商用化の加速化を図っている。このパートナーシップの下で、BARDA では GHIC に対して最大で 10 年間で 5 億ドルを拠出する予定としており、GHIC では自らも資金拠出を行った上で、世界中の健康安全保障に貢献する企業への資金協力を行っている⁸⁸。

2.2.3 事業分野とこれまでの成果の概観

BARDA の事業分野は、上述の趣旨のとおり、国家的な緊急事態に対して医学的・公衆衛生的な観点から必要な対応を行うというものであり、事業分野は一部に特化したものになっており、その内容はおおむね次の 4 分野に分かれている。

- (1) CBRN 事故等への医学的対応：国家的な安全保障への脅威に対処するための CBRN 事故等への医学的対応策（Medical Countermeasures：MCMs）に関する先進的な研究開発及び調達支援のための資金拠出⁸⁹
- (2) 薬剤耐性（Antimicrobial Resistance）への対策：世界的な健康への脅威となっている薬剤耐性菌に対して医療現場において適切な対応ができるような新たな抗菌薬の開発や医療体制の強化等⁹⁰
- (3) インフルエンザのパンデミックへの対応：今後想定される新たなインフルエンザによるパンデミックに備えて最新のワクチンの開発や国内生産体制の強化、よりサステナブルな感染症対策の推進等⁹¹

⁸⁴ <https://www.hhs.gov/sites/default/files/fy-2022-phssec-cj.pdf>, p23

⁸⁵ <https://www.hhs.gov/sites/default/files/fy-2023-phssec-cj.pdf>, p23

⁸⁶ <https://www.cbo.gov/publication/57126>

⁸⁷ <https://www.medicalcountermeasures.gov/phemce/>

⁸⁸ <https://www.medicalcountermeasures.gov/barda/advancing-innovation#nav-last>

⁸⁹ <https://www.medicalcountermeasures.gov/barda/cbrn/>

⁹⁰ <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/ProgramOffices/BARDA/Pages/AMR.aspx>

⁹¹ <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/ProgramOffices/BARDA/Pages/PI.aspx>

- (4) 新興感染症への対応：Covid-19、エボラ出血熱、ジカ熱等の新興感染症に対処するための MCMs の整備に向けての資金拠出⁹²

3 バイオ医療をめぐる大手医薬品企業とバイオ医薬品企業の連携動向

前章までは、米国の製薬業界を取り巻く連邦政府の取組等について触れてきたが、本章では、バイオ医薬品の研究開発から製造等における製薬業界の現状について概観する。特に、最近では小規模のバイオ医薬品企業のプレゼンスが拡大してきていることに焦点を当てる。

3.1 大手医薬品企業とバイオ医薬品企業の連携動向

コンサルティング会社の KPMG が行った分析⁹³によると、Covid-19 禍で世界経済が甚大な影響を受ける中、2020 年以降バイオファーマ産業の M&A 総額が急増し、2021 年もその流れが続いた。しかしながら、2022 年に入り、インフレ、金利上昇、景気後退懸念、株式価値の下落により不確実性が高まったことから、大手製薬会社は M&A を様子見し、リスクを最小化する戦略をとったことで、M&A 件数及び総額が激減する結果となった。

しかしながら、世界の医薬品パイプライン全体で爆発的なイノベーションが継続的に拡大していること、大手製薬会社の中には、Covid-19 治療薬やワクチンに加え、画期的な薬効を持つ新薬であるブロックバスターの売り上げで潤沢な資金を獲得した企業もあることから、今後の景気の持ち直しとともに、バイオファーマ産業における M&A の増加が見込まれている。

図表 6：2019-2022 の M&A 上位 10 案件

日付	買収企業	被買収企業	金額 (10 億ドル)	買収対象となる主な製品
2019 年				
1/3	Bristol-Myers Squibb	Celgene	\$74	骨髄腫治療薬 Revlimid
1/7	Eli Lilly	Loxo Oncology	\$8	経口 RET 阻害剤 LOXO-292 と BTK 阻害剤 LOXO-305
2/25	Roche	Spark Therapeutics	\$4.3	遺伝子治療薬 Luxturna、開発スキルおよび商業的ノウハウ
5/8	Novartis	Takeda's Xiidra	\$3.4 (前金)	ドライアイ治療薬 Xiidra
6/17	Pfizer	Array BioPharma	\$11.4	Mektovi、Braftovi
6/25	AbbVie	Allergan	\$63	メディカルエステティック、アイケア、中枢神経系、消化器系など 4 つの主要治療領域に特化したトップブランド
7/29	Mylan	Pfizer's Upjohn	\$12	特許切れブランド薬および経口ジェネリック医薬品
8/20	Elanco	Bayer animal health	\$7.6	アニマルヘルス
8/26	Amgen	Celgene's Otezla	\$13.4	乾癬治療薬 Otezla

⁹² <https://aspr.hhs.gov/AboutASPR/ProgramOffices/BARDA/Pages/EID.aspx>

⁹³ <https://advisory.kpmg.us/articles/2022/biopharma-deal-trends-outlook.html>

日付	買収企業	被買収企業	金額 (10億ドル)	買収対象となる主な製品
11/24	Novartis	The Medicines Company	\$9.7	循環器系競合品 Inclisiran
2020年				
3/2	Gilead Sciences	Forty Seven	\$4.9	CAR-T 治療薬 Yescarta
8/17	Sanofi	Principia Biopharma	\$3.68	BTK 阻害剤 SAR442168
8/19	Johnson & Johnson	Momenta Pharmaceuticals	\$6.5	FcRn 阻害剤 ニボカリマブ 自己免疫疾患治療薬
8/31	Nestlé	Aimmune Therapeutics	\$2	ピーナッツアレルギー治療薬 Palforzia
9/13	Gilead Sciences	Immunomedics	\$21	新たに承認された TROP-2 指向のがん治療薬 Trodelvy
10/5	Bristol Myers Squibb	MyoKardia	\$13.1	ミオシン阻害剤 Mavacamten、danicamitiv (MYK-491)、MYK-224
10/26	Bayer	Asklepios BioPharmaceutical	\$2 (前金)	細胞・遺伝子治療のためのプラットフォーム
11/5	Merck & Co.	VelosBio	\$2.75	抗体薬物複合体 ROR1
12/12	AstraZeneca	Alexion Pharmaceuticals	\$39	Soliris、Ultomiris
12/21	Servier	Agios Pharmaceuticals' oncology portfolio	\$1.8 (前金)	急性骨髄性白血病治療薬 Tibsovo と Idhifa
2021年				
2/1	Horizon Therapeutics	Viela Bio	\$3.05	希少疾病治療薬 Uplizna、炎症性疾患・希少疾病の臨床段階候補化合物、幅広い研究開発能力
2/3	Jazz Pharmaceuticals	GW Pharmaceuticals	\$7.2	難治性てんかん治療剤 Epidiolex
3/4	Amgen	Five Prime Therapeutics	\$1.9	抗線維芽細胞増殖因子受容体 2b(FGFR2b)抗体
8/3	Sanofi	Translate Bio	\$3.2	mRNA を用いた感染症ワクチン
8/23	Pfizer	Trillium Therapeutics	\$2.26	CD47 マクロファージチェックポイントの初期段階の阻害剤
9/8	Perrigo	HRA Pharma	\$2.1	競合製品ブランド、約 60 カ国で市販されているモーニングアフターピル ellaOne などの避妊具。
9/8	Sanofi	Kadmon Holdings	\$1.9	慢性移植片対宿主病治療薬 Rezurock (belumosudil)
9/30	Merck & Co	Acceleron	\$11.5	肺動脈性肺高血圧症治療薬 Sotatercept
11/18	Novo Nordisk	Dicerna Pharmaceuticals	\$3.3	代謝性疾患および肝臓関連疾患共同研究開発における RNAi プラットフォーム
12/13	Pfizer	Arena Pharmaceuticals	\$6.7	経ロスフィンゴシン-1 リン酸受容体
12/14	CSL	Vifor Pharma	\$11.7	鉄欠乏症治療薬 Ferinject/Injectafer
2022年				
1/19	UCB	Zogenix	\$1.9	特定のでんかんや希少なてんかんを対象としたパイプライン
4/13	GSK	Sierra Oncology	\$1.9	Momelotinib、Momelotinib + SRA515、および SRA515 単剤療法を評価する臨床試験
5/10	Pfizer	Biohaven	\$12.9	片頭痛薬 Rimegepant と Zavegepant、および 5 つの前臨床 CGRP
5/31	GSK	Affinivax	\$3.3	ワクチン研究開発パイプライン AFX3772、MAPS30+、SA MAPS4+、MAPS プラットフォーム
6/3	Bristol Mayers Squibb	Turning Point	\$4.1	がん領域のパイプライン Repotrectinib、Elzovantinib、TPX-0046、TPX-4589、TPX-0131

日付	買収企業	被買収企業	金額 (10億ドル)	買収対象となる主な製品
8/4	Amgen	ChemoCentryx	\$3.7	炎症および腎臓病治療薬 Tavneos、Avacopan、および3つの初期段階の医薬品候補、CCX559、CCX507、CCX587
8/8	Pfizer	Global Blood	\$5.4	希少な血液学薬品 Oxbryta、Inclacumab、GBT021601
10/3	Incyte	Villarix	\$1.43	白斑およびその他の自己免疫疾患や炎症性疾患の治療薬 Auremolimab および抗 IL-15Rβ モノクローナル抗体
11/19	Merck & Co.	Imago	\$1.36	血小板血症、骨髄線維症、真性多血症に使用される Bomedemstat (LSD1 阻害剤) および2つの創薬ステージの候補物質
12/11	Amgen	Horizon	\$27.8	希少疾病および免疫学的疾患のパイプライン、11の市販薬 (Tepezza、Krystexxa、Ravicti、Procysbi、Actimmune、Uplizna、Buphenyl、Quinsea、Pennsaid、Duexis、Rayos、Vimovo)、5の臨床および3の前臨床試験プログラム

出所: Fierce Pharma for 2019-2021, PharmaShots for 2022 を基にワシントンコア作成⁹⁴

3.2 医薬品の研究開発プロセスと医薬品企業間の連携モデル

医薬品の研究開発は、それ自体が複雑であることに加えて、国の経済状況や技術の発展、その他社会的な要素により大きな影響を受ける。特に、各企業が市場で生き残るために、以前よりも急激である様々な状況の変化に迅速に対応することが求められるようになってきている⁹⁵。最近の状況をみると、Covid-19 のワクチンや治療薬の研究開発に関して上市までの流れを加速化する努力が続けられたことにより、米国では最初の特許権の申請から上市までの期間の中央値は最も短くなっており、2020年以降21品目の医薬品が、特許期間に入って5年以内に上市されている。また、新医薬品のうち72%が食品医薬品局 (Food and Drug Administration : FDA) の承認において何らかの形で迅速化された手続を経ており、全体の4分の1が迅速承認手続を経て承認されたか緊急使用許可 (Emergency Use Authorization : EUA) を受けている⁹⁶。そのような状況を背景として、医薬品の研究開発を行う企業同士の連携が様々な形で進んできており、それが新しい医薬品の上市に向けた多様なルートを生むことにもつながっている⁹⁷。

まず、医薬品の研究開発のプロセスに沿って医薬品企業等の連携の全体像について説明する。医薬品の研究開発のプロセスは創薬 (創薬ターゲットの選定を含む) から前臨床開発、臨床開

⁹⁴ <https://www.fiercepharma.com/special-report/top-10-largest-biopharma-m-a-deals-2019>
<https://www.fiercepharma.com/special-report/top-10-largest-biopharma-m-a-deals-2020>
<https://www.fiercepharma.com/special-report/top-10-biopharma-m-a-deals-2021>
<https://pharmashots.com/14218/top-20-biopharma-ma-of-2022-by-total-deal-value>
(No Fierce Pharma article was available for 2022, as of January 16, 2023)

⁹⁵ Gianpaolo Iazzolino and Rita Bozzo. "Partnership Models for R&D in the Pharmaceutical Industry." Quantitative Models in Life Science Business: From Value Creation to Business Processes. SpringerBriefs in Economics. 2023. p29. (<https://link.springer.com/book/10.1007/978-3-031-11814-2>)

⁹⁶ The IQVIA Institute. Global Trends in R&D 2022: Overview through 2021. 2022年2月. (<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports/global-trends-in-r-and-d-2022>)

⁹⁷ L.E.K. Consulting 等. The Financial ecosystem of pharmaceutical R&D: An evidence base to inform further dialogue. 2022. p7. (https://www.rand.org/pubs/external_publications/EP68954.html)

発を経たのち、それぞれの国の規制当局による薬事承認を経て上市される流れである。その過程では、基礎研究や創薬の段階を中心に大学等の研究機関等が関与する場合も多く、特に投資や助成金の支給の観点からの関与も含めるとより複雑な構図になるが、ここでは、研究開発に当たっての医薬品企業間の連携に焦点を当てて説明する。

図表 7：医薬品の研究開発プロセスと医薬品企業間の連携モデル



出所: L.E.K. Consulting 等⁹⁸を基にワシントンコア作成

上記図表のように、①の創薬段階から1社が単独で対応する形態と②の複数社で対応する形態があり得るが、過去10年間で②の複数社で対応する形態が増加してきている。②の中には、それまで開発を進めてきた企業が他社にライセンス供与を行う場合や、複数社において共同研究を進める形、あるいは開発を進めてきた小規模医薬品企業を大手医薬品企業が買収する等のケースが含まれる。なお、研究開発の元となり創薬のターゲットとされる物質については、各主体が独自に発見する場合や既承認医薬品の適用拡大を行う場合等があり得る。実際の連携に当たっての体制は、具体的な製品、適用される技術、その他諸々の状況に基づき決まることになる⁹⁹。

3.3 小規模医薬品企業のプレゼンスの拡大

上述の①のうち、最近では、小規模医薬品企業¹⁰⁰が単独でバイオ医薬品の上市まで行うケースが増加している。欧州でも方向性は同様であるが、特に米国においてそのような傾向がある。小規模企業であっても実際に医薬品の上市まで達成できれば、特に米国では新たな医薬品に対する高額な負担を許容する傾向があり、企業価値を大幅に引き上げることに繋がる。一方で、実際には臨床試験の実施や規制当局への対応等の負担が大きいと、具体的なケースでは、開発している医薬品の対象とする疾患の種別や想定される患者数等に加えて、当該企業としての収支状況や投資を呼び込む能力、さらには具体的な業務のCRO等（下記を参照）への外注が可

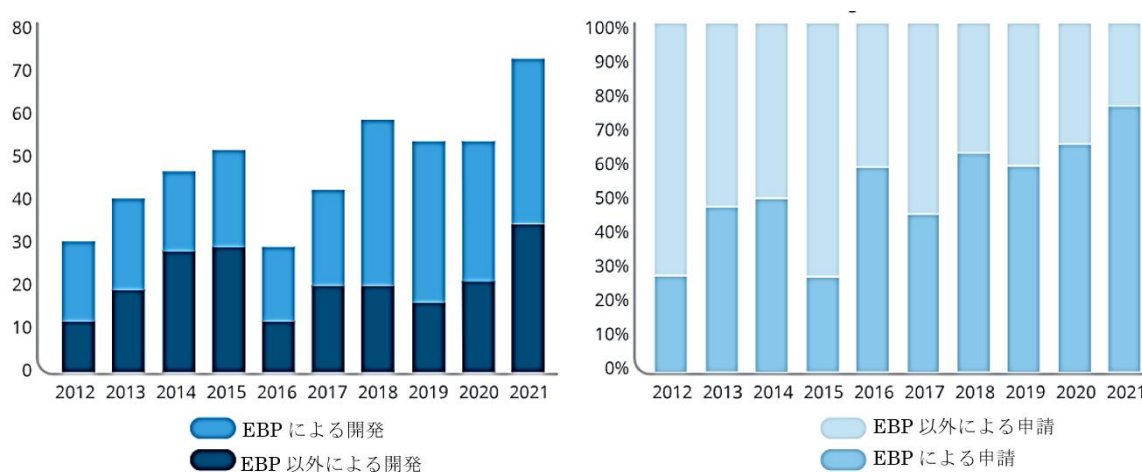
⁹⁸ 同上. p9. 同資料では、大学等との連携も含めて類型を7つに分けているが、ここでは簡略化して企業間の連携に絞り大枠で2つに分けている。

⁹⁹ 同上. p8-9.

¹⁰⁰ L.E.K. Consulting 等では、小規模医薬品企業に加えて、バイオテクノロジー企業が医薬品製造に参入する場合にも同じカテゴリーに分類している。

能かどうか等の状況によることになる¹⁰¹。IQVIA のレポート¹⁰²では、そのような小規模医薬品企業を「研究開発費が推計で2億ドル未満」かつ「各年の収入が5億ドル未満」の企業と定義した上で、新興バイオ医薬品企業（emerging biopharma companies : EBP）と呼んでいる。新薬開発パイプラインにおいて、2001年はEBPsによるものが全体の3分の1だったものが、2016年に50%になった後さらに増加し2021年には65%を占めるまでに至っている。また、新規活性物質（Novel Active Substance : NAS）¹⁰³については、EBPsが開発したものは過去10年間の平均で55%であるが、薬事承認に向けてEBPs自身がFDAへの申請を行った割合は増大し、2021年は76%にまで達している¹⁰⁴。

図表8：EBPsが開発・FDAへの申請を行ったNASの割合の推移



出所: The IQVIA Institute¹⁰⁵を基にワシントンコア作成

医療の分野別にみると、特に腫瘍薬の開発を進めているところが多く、それらの企業のパイプラインの39%が腫瘍薬であり、1,500品目を超える医薬品が開発中である。その他、大手と比較すると感染症やワクチンにも注力している。また、それらのパイプラインのうち約半分を米国企業が占めているが、2016年の52%をピークに割合は減少し2021年には46%となった。一方で、中国企業の割合が2016年の6%から2021年には17%まで増加しており、医薬品の研究開発における中国企業のプレゼンスの拡大を表している¹⁰⁶。

¹⁰¹ 同上. p10, p30.

¹⁰² The IQVIA Institute. Global Trends in R&D 2022: Overview through 2021. 2022年2月. (<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports/global-trends-in-r-and-d-2022>).

¹⁰³ 同上：少なくとも1つの要素に新規性がある新たな分子化合物又は生物学的化合物を指す。

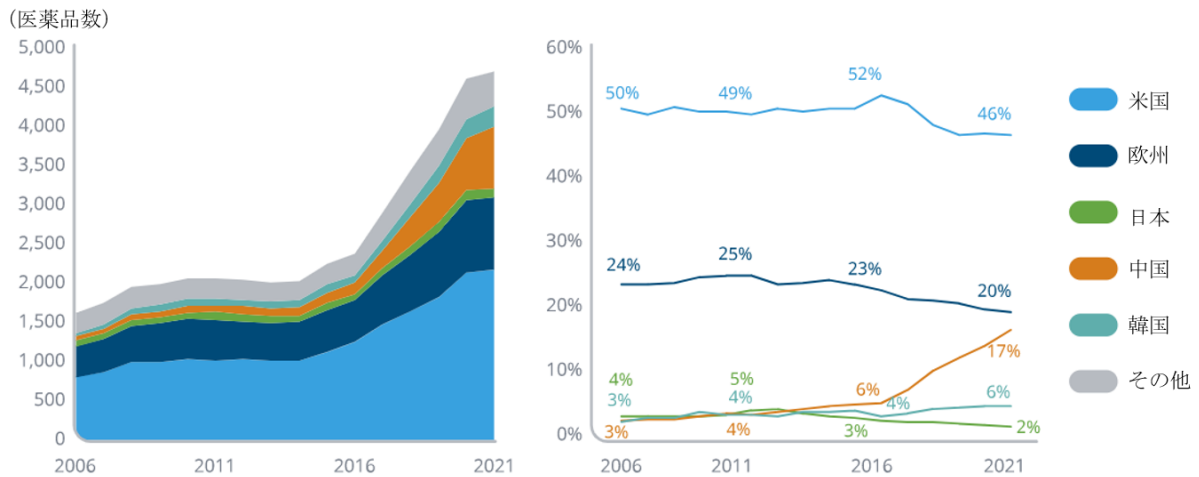
¹⁰⁴ The IQVIA Institute. Emerging Biopharma's Contribution to Innovation. 2022年6月.

(<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports/emerging-biopharma-contribution-to-innovation>)

¹⁰⁵ 同上

¹⁰⁶ 同上

図表 9 : EBP の本拠地の分布の推移



出所: The IQVIA Institute¹⁰⁷を基にワシントンコア作成

4 CRO・SMO をめぐる動向

本章では、上述のように、研究開発プロセスのうち一部のアウトソーシングを受注する業態の企業の役割が増大している点を踏まえ、その全体の概観及び特に受託を行う企業のうち医薬品開発業務受託機関（Contract Research Organization : CRO）及び臨床試験施設支援機関（Site Management Organization : SMO）の米国における最新の状況について説明する。

4.1 医薬品の研究開発プロセスの中でのアウトソーシングの役割等

研究開発のプロセスは非常に複雑であり、諸々の状況の変化等からくるリスクもあることを踏まえ、医薬品の研究開発を行う企業がそのプロセスの一部を他の企業に外注することが一般的に行われており、受注する企業はその内容に応じていくつかの業態が存在する。ここでは特に次の2つを取り扱う。

- CRO：創薬から臨床開発までの業務を受注する。社によって研究開発プロセスのうち特定の段階を専門的に担当している¹⁰⁸。
- SMO：臨床開発の業務のうち臨床試験に関する業務を受注する¹⁰⁹。

¹⁰⁷ The IQVIA Institute. Emerging Biopharma’s Contribution to Innovation. 2022年6月。

(<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports/emerging-biopharma-contribution-to-innovation>)

¹⁰⁸ L.E.K. Consulting 等. The Financial ecosystem of pharmaceutical R&D: An evidence base to inform further dialogue. 2022. p8. (https://www.rand.org/pubs/external_publications/EP68954.html) : CRO の他、前臨床開発以降のプロセスのアウトソーシングを受注する CDO (Contract Development Organization) や、製造を受注する CMO (Contract Manufacturing Organization)、前臨床開発から製造までを受注する CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization) という業態もあるが、ここでは詳細について述べない。

¹⁰⁹ <https://vial.com/blog/articles/what-is-an-smo/>

それぞれの業態が医薬品の研究開発プロセスのどこで役割を果たすのかについては下記図表のとおりである。

図表 10：医薬品の研究開発プロセスと CRO・SMO の位置づけ

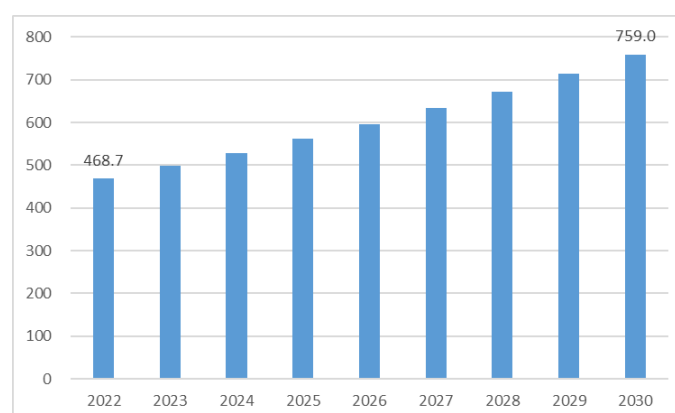


出所: L.E.K. Consulting 等¹¹⁰を基にワシントンコア作成

4.2 CRO の現状

バイオ医薬品企業等による新しい医薬品等の研究開発に係る投資の増加等を通じて、医療における CRO の役割が増大してきている。Precedence Research の推計では、世界の市場規模は 2030 年に 759 億ドルまで増加するものと見込まれており、2022 年以降の平均成長率は 6.2%となる。

図表 11：世界の CRO の市場規模：将来推計（単位：億ドル）



出所: Precedence Research¹¹¹を基にワシントンコア作成

研究段階別にみると、臨床セグメントが 2022 年時点で全体の 76.6%を占めている。一方で、今後の成長率としては前臨床セグメントの方が高く、毎年 8.3%の増加が見込まれている。地域別にみると、北米地域の市場が最も大きく 2022 年は全体の約 43%を占めるものと推計されており、これは、同地域に拠点を構える大手医薬品企業や大手 CRO の存在によるところが大きい¹¹²。

¹¹⁰ L.E.K. Consulting 等. The Financial ecosystem of pharmaceutical R&D: An evidence base to inform further dialogue. 2022. p8. (https://www.rand.org/pubs/external_publications/EP68954.html)

¹¹¹ <https://www.precedenceresearch.com/healthcare-contract-research-organization-market>

¹¹² 同上

また、2023年に注目すべきCROとしては、例えば次のような企業がある¹¹³。

- **Charles River Laboratories International, Inc.** (<https://ir.criver.com/>)
本拠地：米国。1947年に創業し、現在では20カ国を超える国々に110以上の拠点を持つ。2021年の総収入は約35億ドルであり、2022年第3四半期累計の収入は前年同期比で9.1%の伸びとなっている。
- **CMIC Holdings Co., Ltd.** (<https://en.cmicgroup.com/>)
本拠地：日本。1992年に日本初のCROのビジネスを開始し、現在では26のグループ企業が合計で62カ所の拠点をもち、アジア、オーストラリア及び米国に展開している。CRO事業に関する2022年度の売上はドル換算で約2億9,700万ドル、グループ企業全体では約7億9,900万ドルとなっている。
- **ICON** (<https://www.iconplc.com/>)
本拠地：アイルランド。1990年に創業し、欧州、米国、南米を含む53カ国に113カ所の拠点をもち、医薬品・医療機器の開発及び商用化の支援サービスを展開している。2022年の第3四半期累計の収入は57億7,940万ドルと、実質ベースで前年比65.1%の増加となっている。
- **Vial Health Technology Inc.** (<https://vial.com/>)
本拠地：米国。2020年に創業し、テクノロジーの活用により「より早く、より良く、より安価な臨床試験」を支援するCROとして注目を集め、2022年半ばまでに合計1億ドル、さらに11月には6,700万ドルの資金提供を受けている。
- **IQVIA** (<https://www.iqvia.com/>)
本拠地：米国。1982年に創業し、医療関連の情報技術や臨床研究を扱う企業に対してサービスを提供し、100カ国を超える国で業務を行う世界最大級のCRO企業である。2022年の第3四半期累計の収入は106億7,100万ドルと、実質ベースで前年比8.1%の増加となっている。
- **Labcorp** (<https://www.labcorp.com/>)
本拠地：米国。1969年に創業し、100カ国を超える国々でサービスを提供している。2022年の第3四半期累計の収入は112億ドルと前年同期比で7.1%の減少となったが、臨床開発ビジネスは2019年第2四半期から2022年第2四半期までの期間平均8.0%増となっている。
- **Parexel** (<https://www.parexel.com/>)
本拠地：米国。1982年に創業し、英国及びドイツにも研究拠点をもち、2021年の臨床試験実施機関のアンケート調査で「最も一緒に働きたいCRO」に選ばれた¹¹⁴。2022年には他のCRO企業と合同で臨床研究業務を実施するCommunity Alliance Networkを立ち上げた。
- **PPD** (<https://www.ppd.com/>)
本拠地：米国。1985年に個人のコンサルティング事務所として創業し、現在では100カ国を超える国々で業務を行っている。2021年12月、世界最大級のサイエンスソリューション企業であるThermo Fisher Scientific Inc.により174億ドルで買収された。

¹¹³ <https://vial.com/blog/articles/top-10-cros-to-watch-in-2023/>：個別情報については各社のウェブサイトも参照した。

¹¹⁴ <https://newsroom.parexel.com/node/7351/pdf>

- Syneos Health (<https://www.syneoshealth.com/>)
本拠地：米国。INC Research と inVenti Health が 2018 年に合併して現在の体制となった¹¹⁵。現在、110 カ国を超える国々で業務を行っている。2022 年の第 3 四半期累計の収入は 40 億 3,320 万ドルと前年同期比・実質ベースで 7.2%の増加となった。
- WuXi AppTec (<https://www.wuxiapptec.com/>)
本拠地：中国。2000 年に創業した WuXi PharmaTech が 2008 年に米国の AppTec Laboratory Services を買収して現在の体制となった。30 カ国を超える国々で業務を行っている。2022 年の第 3 四半期累計の収入はドル換算で約 40 億 4,000 万ドルと前年同期比で 71.9%の増加となった。

4.3 SMO の現状

SMO は、CRO とは異なり、医薬品等の研究開発全般ではなく、特に臨床試験の部分の実施を担当する企業である。臨床試験の実施主体を支援して、臨床試験の審査委員会への提出書類の作成、対象患者の確保等を含めた臨床試験の実施全般に関する業務を受託するが、CRO と同様に、医薬品・医療機器の研究開発に係る投資の増加等を通じてその役割は増大してきている¹¹⁶。Insight Ace Analytic の推計では、世界の市場規模は 2021 年に約 11 億 1,000 万ドル、2030 年には 29 億 9,000 万ドルを見込んでおり、毎年の平均成長率は 11.7%となる。分野別にみると、今後がんの分野が最も伸びる可能性があると思込まれている。地域別にみると、CRO と同様に北米地域のシェアが最も大きい状況で推移するものと思込まれている¹¹⁷。

また、Grand View Research のレポートでは、主な SMO として例えば次のような企業が挙げられている¹¹⁸。

- Elligo Health (<https://www.elligohealthresearch.com/>)
本拠地：米国。2016 年に創業し、600 カ所を超える施設を支援し、事業実施国は 30 カ国を超えている。2020 年には ClinEdge 等他の SMO を買収して事業を拡大した。
- WCG (<https://www.wcgclinical.com/>)
本拠地：米国。創業自体は 2012 年だが、その前の企業から継続して業務実績は 50 年になる。これまでに支援している施設は 1 万カ所にのぼる。
- ClinChoice (<https://clinchoice.com/>)

¹¹⁵ <https://jp.syneoshealth.com/news/press-releases/inc-researchinventiv-health-becomes-syneos-health%E2%84%A2>

¹¹⁶ CRO と SMO は医薬品研究開発のプロセスの中でカバーする範囲が重複することもあり、同一の企業が CRO の業務と SMO の業務の両方を行っている場合がある。例えば、下記の Insight Ace Analytic のレポートでは、上記で掲げた CRO 企業のうち Parexel を SMO 企業としても例示している。

¹¹⁷ <https://www.insightaceanalytic.com/report/global-site-management-organizations-smo-market/1191>

¹¹⁸ <https://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/clinical-trials-site-management-organizations-smo-market-report>：同サイトで取り上げられている企業からピックアップし、各社のウェブサイト等から情報を追記。

1995年に米国で創業した企業と2007年に中国で創業した企業が合併し、日本を含めて他国にも支社等を設立して2020年に現在の体制となった¹¹⁹。

- FOMAT Medical Research INC. (<https://www.fomatmedical.com/>)
本拠地：米国。臨床試験について10年を超える業務実績を持ち、これまでに50カ所を超える施設を支援している。
- SGS (<https://www.sgs.com/en/our-services/health-and-nutrition/health-science>)
本拠地：スイス。企業の創業自体は1878年だが、臨床試験の支援等について35年を超える業務経験があり、これまで2,000件を超える臨床試験を支援してきている¹²⁰。
- KV Clinical (<http://www.kvclinicalresearch.com/>)
本拠地：インド。2015年に創業し、インド国内36カ所の施設と提携している。臨床試験のルールに関する担当者の訓練等を含めた試験実施全般にわたって支援サービスを提供している。
- SMO-Pharmina (<https://smo-pharmina.net/>)
本拠地：ジョージア。同国における2000年の改革で病院の体制が小規模化する中、2006年に創業。これまでに260カ所の施設における臨床試験の実施を支援している。
- Xylem Clinical Research (<https://xylemcr.com/index-2.html>)
本拠地：インド。創業自体は2008年¹²¹だが、その前の企業から継続して業務実績は50年を超えている。

5 バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）をめぐる動向

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（Biotechnology Innovation Organization：BIO）の、バイオテクノロジー分野における現体制や近年のロビー活動などを取り上げる。

5.1 BIOの概要

世界最大のバイオ産業ロビー団体である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。2023年1月現在、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¹²²、その数は設立当

¹¹⁹ <https://clinchoice.co.jp/about/>

¹²⁰ <https://www.sgs.pt/-/media/global/documents/brochures/sgs-lss-clinical-research-services-en.pdf>

¹²¹ <https://www.tofler.in/xylem-clinical-research-private-limited/company/U73100DL2008PTC185551>

¹²² <https://www.bio.org/about>

時の 350 から約 1,600 社¹²³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 12 : 2022 年 BIO International Convention のイベント会場の様子



出所: BIO¹²⁴

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」を米国の主要都市で開催している。2022 年 6 月にサンディエゴにおいて開催されたイベントには、国内外の 10,000 社以上のバイオテクノロジー企業からの参加があった¹²⁵。次回は、2023 年 6 月にボストンで開催される予定であり、Covid-19、腫瘍学、事業開発、資金調達の動向、細胞および遺伝子治療、デジタルヘルスなどの業界喫緊の課題に焦点を当てた専門家対象のセッションとともに、ネットワーキングや事業開発連携のために、世界のタイムゾーンに対応した 24 時間開催の 1 対 1 パートナーシッププログラム等が予定されている¹²⁶。

5.2 BIO の最近の動静

5.2.1 BIO リーダーシップの変遷



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。2005 年から 2020 年までは前下院議員の James C. Greenwood 氏、2020 年から 2022 年まで科学者で元食品医薬品局 (Food and Drug Administration : FDA) 規制当局の Michelle McMurry-Heath 氏がプレジデント兼 CEO

¹²³ <https://www.bio.org/bio-initiatives>
<https://www.bio.org/bio-member-directory>
<https://www.bio.org/about-bio-membership>

¹²⁴ <https://www.bio.org/events/bio-international-convention/2022-exhibitors>

¹²⁵ <https://www.bio.org/events/bio-international-convention>

¹²⁶ <https://www.bio.org/events/bio-international-convention>

を務めた。McMurry-Heath 氏は 2022 年 10 月 11 日付けで辞任し、同年 11 月 1 日以降 GlycoMimetics, Inc. (GMI) の共同創設者で元 CEO の Rachel King 氏が BIO の暫定 CEO を務めている¹²⁷。

新たに BIO の暫定 CEO に就任した Rachel King 氏は、2003 年に GMI を設立する前、米国を代表するベンチャーキャピタルの 1 つである New Enterprise Associates 社 (NEA) のエグゼクティブインレジデンスを務めた。NEA の前の経歴としては、Novartis 社のシニアバイスプレジデント、Genetic Therapy 社 (10 年間在籍し、同社の新規株式公開、Novartis 社への売却を担当) がある。



Rachel King 氏
BIO 暫定 CEO

同氏はまた、前メリーランド州知事の Martin O'Malley 氏の下でメリーランド州ライフサイエンス諮問委員会の議長を務めた。現在、Novavax 社とメリーランド大学バイオパークの取締役を務めている。ハーバードビジネススクール MBA 取得¹²⁸。

Rachel King 氏は暫定 CEO 就任にあたり、「BIO の戦略は順調に進んでいる」とし、「あらゆる背景を持つ人々を対象に、人々の健康と福祉を向上させる」医療と技術を進歩させると述べている¹²⁹。新 CEO である Rachel King 氏のリーダーシップの下、BIO は、バイオテクノロジー業界を取り巻く様々な課題に取り組んでいる。、2022 年 8 月に可決・成立したインフレ削減法 (Inflation Reduction Act : IRA) に基づき、保健福祉省 (Department of Health & Human Services : HHS) において薬価改革の実施が開始されることから、BIO はその動向に注視しつつ、引き続き積極的なロビイング活動を行っていくものと思われる。

なお、BIO の理事選挙は、2022 年 6 月にサンディエゴで開催された BIO International Convention の期間中に行われ、2022-2023 年期の新たな執行委員会¹³⁰理事が選出されている¹³¹。

5.2.2 2021 年の米国バイオサイエンス業界の動向

2022 年 10 月、BIO と州バイオサイエンス協会評議会 (Council of State Bioscience Associations : CSBA) は共同で、米国のバイオサイエンス産業に関する報告書 (「The US Bioscience Industry Fostering Innovation and Driving America's Economy Forward」¹³²) を発表した。主なポイントは以下のとおりである。

¹²⁷ <https://www.bio.org/senior-leadership-team>

¹²⁸ <https://www.bio.org/senior-leadership-team>

¹²⁹ <https://www.bio.org/press-release/bio-announces-appointment-interim-ceo>

¹³⁰ 理事会執行委員会は、選挙で選出された役員 (7 名)、BIO 前会長、3 セクション (新興企業、農業及び環境、ヘルス) の運営委員会の副会長、およびフルボードから選択された特別理事で構成される。

<https://www.bio.org/bio-board-directors>

¹³¹ <https://www.bio.org/press-release/bio-elects-new-board-directors-and-re-elects-section-governing-board-chairs>

¹³² <https://www.bio.org/press-release/biotech-sector-thrives-generating-nearly-3-trillion-economic-impact-new-report-shows>

- バイオテクノロジー産業は繁栄を続け、2021年に約3兆ドルの経済的影響を生み出した。
- バイオサイエンス産業は、2021年に127,000を超える米国の事業所で210万人の従業員を雇用した。
- 米国経済全体が雇用基盤の1.5%を失う中で、バイオサイエンス産業は2018年以来雇用を11%増加させている。
- バイオテクノロジー企業、特に中小企業は、Covid-19ワクチンと治療薬の開発に多大な努力を払っており、現在747の新規化合物が開発中である。

図表 13 : BIO 報告書

「The US Bioscience Industry Fostering Innovation and Driving America's Economy Forward」



出所: BIO¹³³

5.2.3 過去10年間の臨床開発成功率の研究報告

BIOは、QLS Advisors社及びInforma Pharma Intelligence社と共同で、2011年から2020年の臨床開発の成功率に関する研究を行い、2021年2月にその結果を「報告書臨床開発成功率と要因 2011–2022 (Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011–2020)」¹³⁴¹³⁵として発表した。

この研究は、臨床開発の成功率、それらの結果に寄与する要因、及び臨床試験のタイムラインを測定することを目的としており、主なポイントは以下のとおりである。

¹³³ <https://www.bio.org/press-release/biotech-sector-thrives-generating-nearly-3-trillion-economic-impact-new-report-shows>

¹³⁴ https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf?_ga=2.123534479.549343561.1673706682-603336364.1672781832

¹³⁵ この研究では、Biomedtrackerデータベースに登録されている1,779社（※ほぼすべての医薬品企業が含まれる）、過去10年間（2011～2020年）の9,704件の開発プログラムから、合計12,728件の臨床および承認に向けての各フェーズの移行が記録・分析されている。

図表 14 : BIO 報告書

「Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011–2020」



出所: BIO¹³⁶

- 2011年から2020年までのすべての開発候補のフェーズ I からの全体的な承認の可能性 (Likelihood of Approval : LOA) は 7.9%である。
- フェーズ移行の成功に寄与する主な要因は、疾患の適応症、ターゲット、モダリティ、医薬品の新規性である。
- 希少疾患の治療は、全体の LOA が 17.0%と顕著な成功を収めている。
- 有病率の高い慢性疾患の治療は成功率が低く、全体の LOA は 5.9%である。
- 医薬品モダリティの生物学的複雑性は一般に LOA を高くし、CAR-T と RNA 干渉はそれぞれ 17.3%と 13.5%と最高の LOA を達成した。
- 患者の事前選択バイオマーカーを採用した試験による開発プログラムは、LOA が 2 倍高くなる。
- 14 の主要な疾患領域¹³⁷のうち、血液学治療はフェーズ I から最も高い LOA を示し (23.9%)、最も成功しなかったグループである泌尿器科 (3.6%) の 7 倍の増加を表している。
- 免疫腫瘍学 (Immuno-Oncology) 分野は、LOA が 12.4%であり、腫瘍学全体の 5.3%と比較して、同分野における R&D において稀にみる成功を収めている。
- フェーズ II の開発は依然として医薬品開発における最大のハードルであり、この重要なフェーズ移行を達成した候補はわずか 28.9%であった。
- フェーズ I から規制当局の承認を得るまでに、平均で 10.5 年を要する。LOA が平均以上の疾患領域は、開発期間が最も短い傾向にある。

¹³⁶ https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf?_ga=2.123534479.549343561.1673706682-603336364.1672781832

¹³⁷ アレルギー、自己免疫、循環器、内分泌、消化器病学、血液学、感染症、代謝学、神経学、腫瘍学、眼科学、精神科、呼吸器科、泌尿器科

5.2.4 インフレ削減法（IRA）における薬価制度改革に対するロビイング活動

第 1 章（1.3 インフレ削減法（IRA）における薬価制度改革に関する議論）で述べたとおり、IRA 法案には製薬会社との価格交渉制度が含まれていたことから、BIO は、議会における審議・採決と並行して数多くの声明を発表するなど、積極的なロビイング活動を繰り広げた。

BIO の多大な努力に関わらず、同法案は、2022 年 8 月米国議会上院において徹夜のセッションの後、7,400 億ドルの抜本的な和解パッケージとして可決された。可決後、BIO のプレジデント兼 CEO（当時）である Michelle McMurry-Heath 氏が声明¹³⁸を発表し、「この 2 日間の上院での長時間にわたる討論を聞いても、IRA の信頼できる分析はすべて同じ結論に達し、患者のための治療が減少するという事実を覆すことはできなかった。我々は、本日可決された最終調整パッケージに含まれる政府の価格統制策に断固として反対する」と述べている。

6 米国バイオ医薬品関連分野のエコシステム

米国におけるライフサイエンス産業は、世界をけん引する一大産業であり、国内全土に、医薬品、バイオ医薬品、医療機器、デジタルヘルス企業が集積するライフサイエンスクラスター（エコシステム）が数多く存在している。本項では、米国バイオ医療分野の集積地域として著名なボストン、シリコンバレー、サンディエゴに加え、エマージング拠点として近年急成長を遂げているワシントン DC、ノースカロライナ及びフィラデルフィアを加えた全 6 都市について、その概要、主要なプレイヤー（大学、研究機関、病院、企業、支援組織等）と各クラスターの強みの違いに焦点を当て調査分析を行う。

6.1 米国におけるバイオ医薬品エコシステムの概観

ライフサイエンス産業のエコシステムについては、毎年各社から様々なランキングが発表されている。主要ランキングにおいて今回の調査対象 6 地域はトップ 10 に入っている。

¹³⁸ <https://www.bio.org/press-release/final-reconciliation-package-disservice-patients-and-researchers>

図表 15：主要エコシステムのランキング

	スタートアップゲノム社 (2021年)	ヒッキーアンドアソシエイツ社 (2022年)	総合不動産サービス会社 JLL 社 (2022年)	Genetic Engineering & Biotechnology News (2021年)
1位	シリコンバレー	ボストン	ボストン	ボストン
2位	ボストン	シリコンバレー	シリコンバレー	シリコンバレー
3位	ニューヨーク	サンディエゴ	サンディエゴ	ニューヨーク/ニュージャージー
4位	ロンドン	ノースカロライナ	ワシントン DC	ワシントン DC
5位	サンディエゴ	深圳 (中国)	フィラデルフィア	サンディエゴ
6位	ロスアンゼルス	コペンハーゲン	ノースカロライナ	ロサンゼルス
7位	ワシントン DC	シアトル	ニュージャージー	フィラデルフィア
8位	フィラデルフィア	フィラデルフィア	ニューヨーク	シアトル
9位	上海	ワシントン DC	シアトル	ノースカロライナ
10位	ノースカロライナ	サンホゼ	ソルトレイクシティ	シカゴ

注：

- 灰色は今回の調査対象地域。
- ワシントン DC は、メリーランド州、ヴァージニア州の近隣都市を含む。
- 評価項目は各社で異なるが、主なものは投資環境、人材、市場性、人材、研究開発力、インフラ整備等。

出所：各資料¹³⁹を基にワシントンコア作成

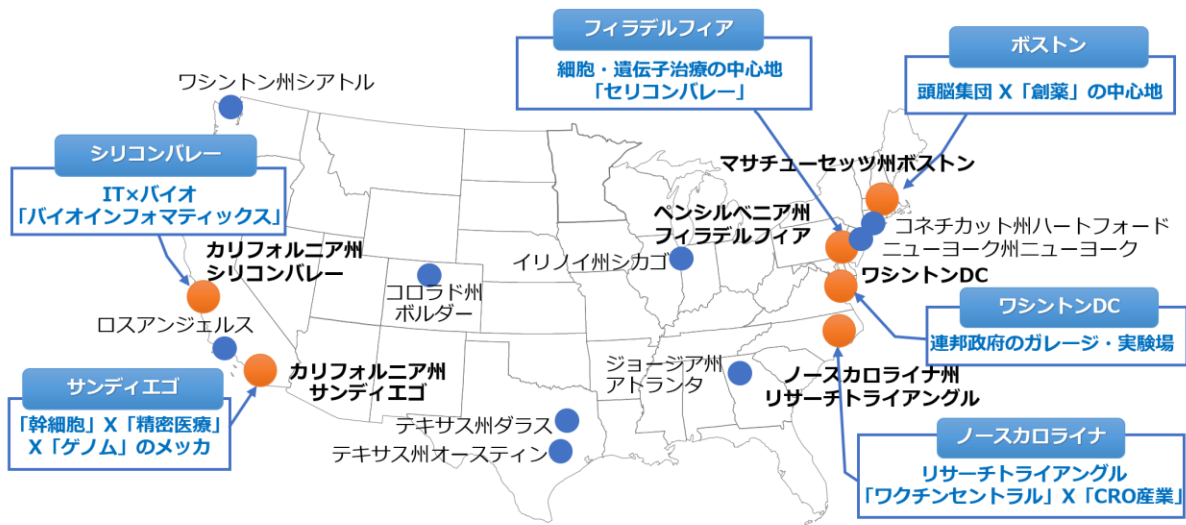
本分野の情報誌としては歴史が最も長い Genetic Engineering & Biotechnology News は、近年の傾向として、同誌のランキングにおいて 2015 年以降ボストンが首位の座を維持しているものの、第 2 位～5 位の地域（シリコンバレー、ニューヨーク/ニュージャージー、サンディエゴ、ロサンゼルス、ワシントン DC）との差が年々縮小しているとしている。このことから、各地域のエコシステムでは、それぞれの特徴や強みを生かしつつ、様々な支援策やインフラ整備によってベンチャー企業を育成し、高成長を実現させている状況が読み取れる。

以下に、スタートアップゲノム社が毎年発表する世界のライフサイエンス産業エコシステムランキングのトップ 35¹⁴⁰に入る米国内都市を図示する。本報告書で調査対象とした 6 都市についてはその有望分野のポイントを特記している。

¹³⁹ <https://startupgenome.com/reports/lifesciences2021>
<https://www.genengnews.com/a-lists/top-10-u-s-biopharma-clusters-8/>
<https://www.us.jll.com/content/dam/jll-com/documents/pdf/research/2022-life-sciences-research-outlook.pdf>
<https://www.hickeyandassociates.com/gih-2022>

¹⁴⁰ <https://startupgenome.com/report/lifesciences2021>

図表 16 : 米国エコシステム



注：●●共に世界のエコシステムランキングトップ 35 地域、うち●は今回の調査対象地域を示す。

出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2 各エコシステムの動向

6.2.1 シリコンバレー

概要

シリコンバレーはハイテクとイノベーションの世界的な中心地であり、ライフサイエンス産業においても、企業数および従業員数において全米第 1 位を誇る。1970 年代半ばに、遺伝子組み換え技術をもとに新薬の開発・販売を行う世界初のバイオテック企業 Genentech 社¹⁴¹が誕生し、バイオ産業のパイオニアとなった。さらに、シリコンバレーにはベンチャーを育成するシステムやネットワークが長年培われており、最先端の研究を行う大学や研究機関だけでなく、ベンチャーキャピタル、弁護士、会計士、コンサルタント、NPO 等の企業育成サポート体制が充実している。これらの成熟したサポート体制の下、ベンチャー企業が次々に生み出され、Genentech 社に続く世界的なバイオテック企業が多数輩出されている¹⁴²。

同地域には世界有数の研究開発型大学が多数存在し、ベンチャー企業を生むための様々なプログラムが提供されている。スタンフォード大学は、2001 年に「バイオデザインプログラム」を設置、医療技術や医療機器開発のイノベーターの育成が実施されている。同大学在学中のプロジェクトを基に、卒業生によって 53 社（2022 年現在）もの企業が立ち上げられ、同企業の製品や技術が米国国内外 760 万人以上の患者に使用されている¹⁴³。

¹⁴¹ <https://www.gene.com/about-us/leadership/our-founders>、なお、Genentech 社は 2009 年スイスを本拠とするロシュ社の完全子会社となっている。

¹⁴² https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf

¹⁴³ <https://biodesign.stanford.edu/>

シリコンバレーのライフサイエンス産業における 2021 年の主要な指標は、下記図表のとおりである。企業数、雇用者数、平均年収は全米第 1 位を誇る。同地域では前年比で全ての指標で上昇がみられたが、特に目立つのが平均年収（80%増加）及び国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）からの研究開発予算（150%増加）の急増である。

図表 17：シリコンバレーのライフサイエンス産業基本データ（2021 年）



出所：Big4Bio 社資料¹⁴⁴

主要プレイヤー

シリコンバレーには、有力な研究開発型大学が多数存在し、前述のスタンフォード大学のバイオデザインプログラムの他、サンフランシスコ州立大学は、バイオテクノロジー及びライフサイエンス分野専門家のための MBA プログラムを実施している¹⁴⁵。また、アウトカムに応じた報酬制度の構築等革新的な医療を実施しているカイザーパーマネンテ病院やスタンフォード大学附属病院は同地域を代表する病院である。

政府のベンチャー施策も充実している。サンフランシスコ市政府は、2000 年頃より Mission Bay Project を開始し、リサーチパークを建設、カルフォルニア大学サンフランシスコ校を中核にバイオ産業を集積した。また、カルフォルニア・ライフサイエンス（California Life Sciences：CLS）は、州内で最も影響力のある業界団体とされ、政策提言やビジネス支援を実施している¹⁴⁶。その他、ライフサイエンス分野に特化した世界初のアクセラレーターである IndieBio 社やアーリーステージ資金や研究開発プラットフォームの提供を行う Mission BioCapital 社¹⁴⁷が特に有名である。

¹⁴⁴ <https://big4bio.com/wp-content/uploads/2022/01/2021-SFBAY-Year-in-Review-Big4Bio.pdf>

¹⁴⁵ <https://cob.sfsu.edu/graduate-programs/biotechmba>

¹⁴⁶ <https://www.califesciences.org/about-us/>

¹⁴⁷ <https://www.missionbiocapital.com/>

図表 18：シリコンバレーにおける主要プレイヤー

分類	名称
行政（州・市）	カルフォルニア州政府、サンフランシスコ市政府
大学	スタンフォード大学、サンフランシスコ州立大学、カルフォルニア大学バークレー校、カルフォルニア大学サンフランシスコ校
研究機関・病院	グラッドストーン研究所、スタンフォード大学附属病院、カイザーパーマネンテ病院
民間企業	AstraZeneca、Genentech（Roche 子会社）、Gilead Sciences、BioMarin Pharmaceutical、Nektar Therapeutics
業界団体	カルフォルニア・ライフサイエンス、カルフォルニア・ライフサイエンス研究所
スタートアップエコシステム（ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等）	Mission BioCapital（ベンチャーキャピタル）、IndieBio（アクセレレーター）、Johnson & Johnson Innovation（インキュベーター）

出所：各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

<バイオインフォマティクス>

シリコンバレーは世界最高の IT 産業の集積地でもあることから、生命現象をコンピューターを用いて研究するバイオインフォマティクスのような新分野の開拓も進んだ¹⁴⁸。同分野は、今後高い成長率が見込まれる有望市場であり、その市場規模は 2020 年に 23 億ドルを記録し、2029 年には 84.7 億ドルとなると予測されている¹⁴⁹。ヒューレッドパッカードから 1999 年にスピノフした Agilent Technologies 社は、同市場における世界のリーディング企業に成長した¹⁵⁰ほか、アルツハイマー病等難病に関する臨床試験のプラットフォームを提供する Unlearn.AI 社等、スタートアップ企業が多数誕生している。

まとめ：シリコンバレーのエコシステム

シリコンバレーは、IT とバイオが融合した「バイオインフォマティクス」を生み出すなど、時代をリードするイノベーションの最先端拠点である。

¹⁴⁸ https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf

¹⁴⁹ <https://www.digitaljournal.com/pr/bioinformatics-services-market-size-to-hit-us-8-47-billion-by-2029-at-a-cagr-of-15-6>

¹⁵⁰ <https://www.agilent.com/about/companvinfo/index.html>

図表 19：シリコンバレーエコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2.2 ポストン

概要

ボストンは、多くのエコシステムランキングで第1位の座を獲得している。その理由は、世界トップクラスの大学、研究機関の集積を反映したNIH研究開発予算（2021年は6,552件、総額37億1,100万ドル）、企業活動の波を反映したラボスペース（3,520万平方フィート）等が高い評価を受けていることにある。

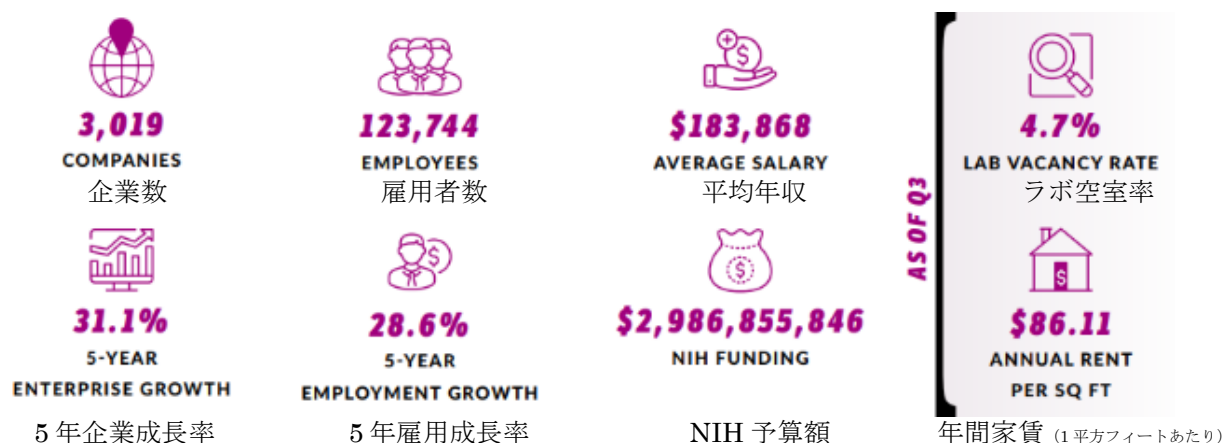
ボストンの大きな特徴のひとつが、世界有数の大学都市で育まれた頭脳集団によって支えられる研究開発能力である。ハーバード大学やマサチューセッツ工科大学（MIT）など世界トップの大学からは、イノベーティブな研究成果の他、優秀な人材が毎年輩出される。武田薬品やPfizerなどグローバル大手製薬会社は研究開発拠点をボストンに構え、同地の病院は、NIHの研究資金（うち独立系病院対象の資金）の約半分を有するなど他地域を圧倒している¹⁵¹。

¹⁵¹ <https://readvmag.com/MassBio/2022IndustrySnapshot/2022-industry-snapshot-11/>

また、バイオフィーマ黎明期から長年にわたる行政の後押しも、ボストンを世界トップのバイオテクノロジー集積地へと導くことに大きく寄与している。1977年、当時論争となっていた遺伝子研究について、ケンブリッジ市議会は、ハーバード大学とMITの研究者による研究を禁止しないことを全会一致で決定し、同地での米国初の遺伝子工学実験を許可するきっかけとなった¹⁵²。2008年、マサチューセッツ州政府は、同分野の雇用創出、研究開発、商業化等支援のために10年間で10億ドルを拠出することを盛り込んだライフサイエンス法を制定¹⁵³し、同分野のインフラ整備を積極的に行っている。さらに、1985年設立の米国で最も古いバイオテクノロジー業界団体であり、会員企業1,600社を超えるMassBio¹⁵⁴はじめ、民間ベンチャー育成組織も多く誕生し、同地におけるライフサイエンス産業の発展が更に加速化した。

ボストンのライフサイエンス産業における2021年の主要な指標は、下記図表のとおりである。同地域では平均年収（前年比34%増）、5年企業成長率（31%増）等、全ての指標で上昇がみられた。ボストン地域は、NIHからの研究開発予算が全米トップ（総額約30億ドル）であり、第2位のシリコンバレーより50%多い金額となっている。企業数、雇用者数、平均年収については、シリコンバレーに次ぐ数字となっている。

図表 20 : ボストンのライフサイエンス産業基本データ (2021年)



出所 : Big4Bio 社資料¹⁵⁵

主要プレイヤー

ボストンには、世界のトップ大学であるハーバード大学、MIT、タフツ大学、ボストン大学など、ボストン都市圏には70以上の高等教育機関がある¹⁵⁶。多くの大学に起業家育成プログラムが設置されており、例えばハーバード大学のHarvard innovation labs、MITのMIT Delta V、

¹⁵² <https://www.nytimes.com/1977/02/08/archives/cambridge-council-allows-harvard-dna-research.html>, <https://news.mit.edu/2019/controversy-cure-inside-cambridge-biotech-boom-1120>

¹⁵³ <https://www.mass.gov/technical-information-release/tir-08-23-life-sciences-tax-incentive-program-under-st-2008-c-130>

¹⁵⁴ <https://www.massbio.org/about/>

¹⁵⁵ <https://big4bio.com/wp-content/uploads/2022/01/2021-BOSTON-Year-in-Review-Big4Bio.pdf>

¹⁵⁶ <https://collegelearners.org/how-many-colleges-and-universities-in-boston/>

マサチューセッツ大学の UMass Venture Development Center、エマーソン大学 Emerson Launch などがある¹⁵⁷。

また、マサチューセッツ総合病院、ブリガム・アンド・ウィメンズ病院、ダナ・ファーバーがん研究所といった大病院の他、橋渡し研究を推進する中核病院が充実していることでも有名であり、ボストンにある病院は全米トップクラスの NIH 研究資金を獲得している¹⁵⁸。

行政も熱心な誘致及び支援活動を行っている。前述のマサチューセッツ州政府やケンブリッジ市の他、ボストン市においても地域の開発や情報提供など様々な支援を行っている。民間では MassBio の他、大手アクセレーターである MassChallenge、高いポテンシャルを持つスタートアップ企業が集積する LabCentral¹⁵⁹、世界 9 都市に 100 万平方フィートを超える共有ワークスペース、ラボ、交流スペースを構える Cambridge Innovation Center¹⁶⁰など、地域支援組織の活動も積極的に行われていることもボストンの特徴である。

図表 21：ボストンにおける主要プレイヤー

分類	名称
行政（州・市）	マサチューセッツ州政府、ケンブリッジ市、ボストン市
大学	マサチューセッツ工科大学（MIT）、ハーバード大学、レズリー大学、タフツ大学、ボストン大学、エマーソン大学
研究機関・病院	ブロード研究所、ホワイトヘッド研究所、マサチューセッツ総合病院、ブリガム・アンド・ウィメンズ病院、ダナ・ファーバー癌研究所
民間企業	武田薬品、Sanofi、Novartis、Pfizer、Biogen、Genzyme、Moderna
業界団体	マサチューセッツ・バイオテクノロジー協議会(Massachusetts Biotechnology Council : MassBio)
スタートアップエコシステム（ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等）	LabCentral、Cambridge Innovation Center、MassChallenge

出所：各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

<創薬技術>

ボストンのエコシステムの強さの象徴がその創薬技術である。ボストンが位置するマサチューセッツ州に本社を置く製薬会社の創薬開発段階について、前臨床のものが圧倒的に多くなっている。また、州別創薬件数では、シリコンバレー、サンディエゴ、そしてロサンゼルスという 3 つの大規模エコシステムを含むカリフォルニア州に続いて、マサチューセッツ州は第 2 位となっている。ボストンは、州内唯一の大規模エコシステムであるにも関わらず、同州は世界全体の 7.2%、米国の 15.6%を占めることから、ボストンにおける創薬技術が、他地域をはるかに凌駕するものであることがわかる。また、その成長も著しく、2021 年は 25%の増加となっている。

¹⁵⁷ <https://www.jetro.go.jp/biz/areareports/special/2019/1102/818ea491b15883e2.html>

¹⁵⁸ https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf

¹⁵⁹ <https://labcentral.org/>

¹⁶⁰ <https://cic.com/about-us>

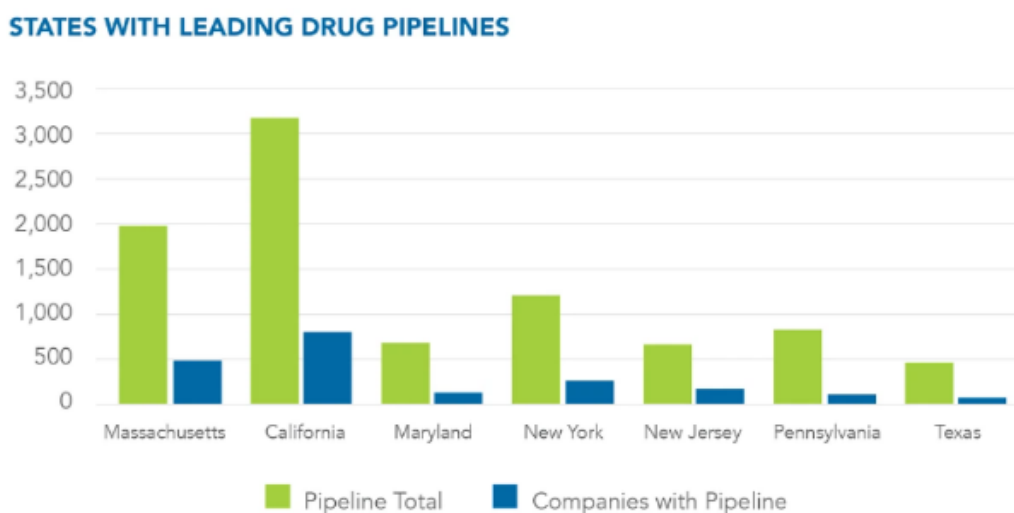
なお、最も一般的な創薬分野は、がん 34%、中枢神経系 15%、抗感染症薬 10%となっている¹⁶¹。

図表 22：マサチューセッツ州に本社を置く企業の創薬開発段階（2021 年）



出所：MassBio 資料¹⁶²

図表 23：州別創薬件数（2021 年）



Source: Evaluate, July 2022

出所：MassBio 資料¹⁶³

まとめ：ボストンのエコシステム

ボストンは、世界有数大学都市の頭脳集団に支えられた「創薬」の一大拠点である。

¹⁶¹ <https://readymag.com/MassBio/2022IndustrySnapshot/>

¹⁶² <https://readymag.com/MassBio/2022IndustrySnapshot/2022-industry-snapshot-20/>

¹⁶³ <https://readymag.com/MassBio/2022IndustrySnapshot/2022-industry-snapshot-20/>

図表 24 : ポストンエコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2.3 サンディエゴ

概要

サンディエゴには、生物工学分野で世界有数の研究機関や医学・工学に強いカルフォルニア大学サンディエゴ校が立地している。グローバル大手製薬会社や日系製薬会社も複数立地しており、世界最大級のバイオコミュニティである BIOCOM もサンディエゴを発祥の地とする。さらに、遺伝子解析機器メーカーの Illumina 等バイオ系ベンチャーも多数輩出しており、大手製薬会社によるバイオベンチャーの買収が盛んにおこなわれている¹⁶⁴。

¹⁶⁴ https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf, https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf

サンディエゴでは、州政府主導で約 20 年前から幹細胞の研究開発が積極的に推進されてきたほか¹⁶⁵、近年特に精密医療（Precision Medicine）やゲノム（Genomics）が重要分野として注目されている¹⁶⁶。さらに、産学連携、オープンイノベーション、ネットワーキング等の交流活動も盛んである上、南カルフォルニアという温暖な気候やシリコンバレーやロサンゼルスと比較して生活コストが低いことも、企業の進出を促す大きな要因となっている¹⁶⁷。最大規模のバイオテクノロジー分野の国際会議である BIO International Convention が、2022 年 6 月にサンディエゴで開催され、新しいビジネスチャンスや連携を模索するために 10,000 人以上のバイオテクノロジーおよび製薬業界のリーダーが集った¹⁶⁸。

サンディエゴのライフサイエンス産業における 2021 年の主要な指標は、下記図表のとおりである。前年と比較しおおむね緩やかな上昇を記録しており、フィラデルフィアとは、ラボ空室率と賃料を除き、同等の市場規模となっているが、サンディエゴのラボ空室率（2.7%）は低く、同地域での研究活動が盛り上がっていることを示唆している。

図表 25：サンディエゴのライフサイエンス産業基本データ（2021 年）



出所：Big4Bio 社資料¹⁶⁹

主要プレイヤー

前述の通り、サンディエゴには生物工学分野で有名な、スクリップス研究所、サンフォード・バーナム・プレビス 医学研究所、ソーク研究所が立地している。また、1985 年にカルフォルニア大学サンディエゴ校の技術の商用化を推進する目的で設立された Connect、2004 年にカルフォ

¹⁶⁵ https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf

¹⁶⁶ https://www.jetro.go.jp/ext_images/Reports/02/2020/03dcf4dbb17e3f7c/nydavori_202004.pdf

¹⁶⁷ https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/20200202_2.pdf, https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/010_04_00.pdf, <https://www.jetro.go.jp/world/reports/2020/02/03dcf4dbb17e3f7c.html>

¹⁶⁸ <https://www.biocat.cat/en/fem/acceleracio-innovacio/fires-congressos/bio-international-convention/bio-san-diego-2022>

¹⁶⁹ <https://www.biocat.cat/en/fem/acceleracio-innovacio/fires-congressos/bio-international-convention/bio-san-diego-2022>

¹⁶⁹ <https://big4bio.com/wp-content/uploads/2022/01/2021-SANDIEGO-Year-in-Review-Big4Bio.pdf>

ルニア州が拠出した資金によって設立された Sanford Consortium for Regenerative Medicine、1995年にサンディエゴに設立された世界最大級のバイオコミュニティである Biocom など多くの地域支援組織も拠点をもち、大学・研究機関と深い結びつきを持った研究開発環境が整備されている。

図表 26：サンディエゴにおける主要プレイヤー

分類	名称
行政（州・市）	カルフォルニア州政府、サンディエゴ市政府
大学	カルフォルニア大学サンディエゴ校（UCSD）
研究機関・病院	スクリップス研究所、サンフォード・バーナム・プレビス 医学研究所、ソーク研究所、UCSD 附属病院
民間企業	武田薬品、協和発酵キリン、Eli Lilly、Pfizer、GlaxoSmithKline、Illumina（遺伝子解析）、Biosplice（再生医療）、Human Longevity（ゲノミクス）、Gossamer Bio（バイオ製薬）、Impact Biomedicines（バイオ製薬）
業界団体	Southern California Biomedical Council（SoCalBio）、Biocom、San Diego Biotechnology Network
スタートアップエコシステム（ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等）	Connect、Sanford Consortium for Regenerative Medicine、Johnson & Johnson Innovation、LaunchBio

出所：各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

<幹細胞研究>

サンディエゴの幹細胞研究において、カルフォルニア州政府の果たした役割は大きい。2004年に行った住民投票の結果を踏まえ、幹細胞研究推進のためにカルフォルニア再生医療研究所（California Institute for Regenerative Medicine：CIRM）¹⁷⁰を創設し、州内の研究機関や企業等に研究資金提供を行っている。

また、カルフォルニア大学サンディエゴ校は、2013年にサンフォード幹細胞臨床センター¹⁷¹を設立し、年間約9億8,500万ドルの研究資金を投入し、多能性幹細胞研究を活用したさまざまな疾患や障害の治療法開発に貢献する最先端の幹細胞研究を行っている。さらに、米国航空宇宙局（NASA）等の支援の下、宇宙幹細胞軌道統合研究センター（Integrated Space Stem Cell Orbital Research（ISSCOR）Center）を設立し、国際宇宙ステーション（ISS）における無重力環境下での造血（血液）幹細胞の老化に関する研究を行っている¹⁷²。

<精密医療（Precision Medicine）>

精密医療とは、遺伝子、環境、ライフスタイルにおける個人差を考慮した新たな予防法や治療法を意味し、2015年にオバマ前大統領が一般教書演説で掲げた、今後アメリカが推進すべきとする医療アプローチである¹⁷³。その演説からまもなくして、カルフォルニア州知事が「カルフ

¹⁷⁰ <https://www.cirm.ca.gov/>

¹⁷¹ <https://stemcells.ucsd.edu/>

¹⁷² <https://today.ucsd.edu/story/uc-san-diego-sanford-stem-cell-institute-launches-stem-cells-into-space>

¹⁷³ https://www.health.ne.jp/library/detail?slug=hcl_5000_w5000716

<https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-turning-discovery-into-health/promise-precision-medicine>

「カリフォルニア州精密医療推進イニシアチブ」の開始を宣言し、以降、同州では精密医療の共同研究の他、州、研究者、患者、コミュニティ、産業間のパートナーシップを促進するための様々な支援が行われている¹⁷⁴。サンディエゴは、精密医療における世界的なリーダー都市であると自負し¹⁷⁵、UCSD ムーアズがんセンターにある精密免疫療法クリニックでは、DNA、免疫細胞、腫瘍の分子特性などの情報を取り入れた、高度にパーソナライズされた治療法が提供されている¹⁷⁶。

<ゲノム (Genomic) >

サンディエゴは全米でトップクラスのゲノム解析サービス市場¹⁷⁷が発達しており、特に遺伝子情報の解析のための基本ツールであるシーケンシング (sequencing) の世界トップ企業が集積している¹⁷⁸。同市場は、これまでサンディエゴを拠点とする Illumina 社一社のほぼ独占であったが、同じくサンディエゴのベンチャー企業 (元 Illumina 研究者が 2017 年に設立した Element Biosciences 社及び 2016 年の Singular Genomics 社) を含むベンチャー企業が躍進しており、シーケンシング業界に変化と競争がもたらされている¹⁷⁹。

まとめ：サンディエゴのエコシステム

サンディエゴは、南カルフォルニアという温暖な気候の恵まれた研究環境の下、「幹細胞」「精密医療」「ゲノム」で世界をリードしている。

¹⁷⁴ <https://opr.ca.gov/ciapm/>

¹⁷⁵ <https://www.sandiegobusiness.org/blog/san-diegos-precision-health-ecosystem/>

¹⁷⁶ <https://health.ucsd.edu/specialties/cancer/programs/immunotherapy/Pages/precision-immunotherapy-clinic.aspx>

¹⁷⁷ 現在、遺伝解析の主流となっている次世代ショートリードシーケンシング市場が発達している。

¹⁷⁸ <https://www.sandiegobusiness.org/blog/san-diego-science-how-genomics-is-addressing-the-global-pandemic/>

¹⁷⁹ <https://www.insideprecisionmedicine.com/topics/molecular-dx-topic/sequencing/top-5-genetic-sequencing-startups-shaking-up-the-industry/>

図表 27 : サンディエゴエコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2.4 フィラデルフィア

概要

フィラデルフィアは、もともと病院や学術機関の数において常に全米ランキング上位に入っていたが、近年、とりわけ遺伝子治療・免疫治療分野でのベンチャー企業が成功を収めており、「細胞」のセルをもじった「セリコンバレー (Cellicon Valley)」というネーミングで紹介されている。

フィラデルフィアは、85の病院・診療所、4つの国立がん研究所 (National Cancer Institute : NCI) 指定のがんセンター、6つの医科大学と10カ所の医療センターを有する。また、Johnson & Johnson、GlaxoSmithKline、Pfizer、Merck など9社の大手製薬会社が拠点を置いており、ヘルスケア産業の一大ハブとなっている上に、さらに近隣のデラウェア州、ニュージャージー州までハブは拡大しつつある。

バイオ業界誌の Big4Bio は、ボストン、サンフランシスコ、サンディエゴ、フィラデルフィアを米国における最も重要なライフサイエンス市場と位置付け¹⁸⁰、同分野の財務、臨床、ビジネスに関するニュースを提供している。

フィラデルフィアのライフサイエンス産業における 2021 年の主要な指標は、下記図表のとおりである。前年比で若干減少した NIH 資金を除くすべての指標で堅調な伸びを示し、中でも 5 年企業成長率は最も大きな上昇幅（約 6%）となった。

図表 28：フィラデルフィアのライフサイエンス産業基本データ（2021 年）



出所：Big4Bio 社資料¹⁸¹

主要プレイヤー

フィラデルフィアには、全米小児病院ランキング第2位のフィラデルフィア小児病院（Children's Hospital of Philadelphia : CHOP）がある。同病院は、特に泌尿器科、糖尿病および内分泌学、がん、新生児、整形外科、および呼吸器科で評価が高く、研究機関としても著名である。また、ペンシルバニア大学など米国有数大学の他、ライフサイエンスとヘルスケアに特化した米国初のブロックチェーン学位取得プログラムがあるトーマスジェファーソン大学もある。

公共の推進組織としては、フィラデルフィア市政府観光局の組織である PHLLife が、ペンシルバニア州、ニュージャージー州、デラウェア州の3州をまたぐ地域のライフサイエンス分野の連携を推進している。地域支援組織としては、細胞・遺伝子治療等に関する世界的なハブを目指すための支援を実施する The Chamber of Commerce for Greater Philadelphia や、地域の高等教育機関及び医療機関により設立・構成されているベンチャー企業のインキュベーターとして、University City Science Center や Penn Center of Innovation が有名である。

¹⁸⁰ 2019年にそれまでの Big3Bio に、フィラデルフィアが追加された。

¹⁸¹ <https://big4bio.com/wp-content/uploads/2022/01/2021-PHILADELPHIA-Year-in-Review-Big4Bio.pdf>

図表 29 : フィラデルフィアにおける主要プレイヤー

分類	名称
行政 (州・市)	PHLLife (フィラデルフィア市政府観光局)
大学	ペンシルバニア大学、トーマスジェファーソン大学、テンブル大学
研究機関・病院	ウイスター研究所、クリスティアナ・ケア遺伝子編集研究所、コリエル研究所、フィラデルフィア小児病院、ペンシルバニア大学附属病院
業界団体	The Chamber of Commerce for Greater Philadelphia
民間企業	Johnson&Johnson、GlaxoSmithKline、Pfizer、Merck、Amicus Therapeutics (希少疾病治療)、Verve Therapeutics (循環器疾患治療)、Spark Therapeutics (遺伝子治療、Roche 子会社)、Passage Bio (遺伝子治療)、Tmunity Therapeutics (CAR-T 療法、カイトファーマが 2022 年末買収)
スタートアップエコシステム (ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等)	Pennsylvania Biotechnology Center (PBC)、University City ScienceCenter (UCSC)、The Discovery Labs、Penn Center of Innovation (PCI)

出所：各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

<遺伝子治療>

フィラデルフィアの遺伝子治療の歴史は長く、フィラデルフィアを「シリコンバレー」とならしめたのは、病院と大学からのイノベーションである。医療機関と大学医学部における技術開発のブレークスルーが遺伝子・免疫治療のメッカを作り出した。特に CAR-T 細胞がん治療法のパイオニアとして有名であり、2010 年にペンシルバニア大学の Carl June 博士が、CAR-T 細胞療法による最初の患者を手掛けた。そして、2012 年に Novartis がペンシルバニア大学と CAR-T 細胞療法の研究および商業化を目的とした戦略的提携を組み、以降製薬業界は次々と免疫療法市場への参入がはじめられた。CAR-T 療法の最初の食品医薬品局 (Food and Drug Administration : FDA) による承認は、2017 年にノバルティスがペンシルバニア大学と共同開発した子供や若年者への急性リンパ性白血病治療を提供する「Kymriah」に与えられた。ペンシルバニア大学からは Passage Bio や Tmunity Therapeutics 等、数多くのスタートアップ企業が誕生している。

また、フィラデルフィア地域の研究機関から発足した新しいスタートアップには、遺伝子治療開発の Spark Therapeutics がある。同社は 2013 年にフィラデルフィア小児病院からスピニアウトして設立された。同社設立の際に、フィラデルフィア小児病院は 5,000 万ドルの資金援助を行い、その後も遺伝子治療開発が連携して推進され、2017 年、同社が開発した初の目の遺伝疾患に対する遺伝子療法に対し、FDA からの承認が下りている。なお、同社は 2019 年に Roche 社の傘下に入っている¹⁸²。

さらに、フィラデルフィアを拠点とする希少疾患治療の Amicus Therapeutics やボストンの循環器疾患治療の Verve Therapeutics といった大企業も、地元の大学の専門家と連携するために Greater Philadelphia 地域に新しい研究施設を建設している。

¹⁸² https://sparktx.com/press_releases/spark-therapeutics-enters-into-definitive-merger-agreement-with-roche/

<ゲノム編集>

同州では、個別化がん治療を可能としている次世代ゲノム編集ツールである CRISPRs の研究開発が非常に盛んである。こうした研究開発の結果、FDA から承認を受けた初のがんの個別化細胞治療法や初の遺伝子治療がもたらされた。また、ペンシルバニア大学附属病院（Penn Medicine）は遺伝子治療、脊髄性筋萎縮症の治療、希少遺伝子疾患に導いた科学研究・開発で主要な役割を果たしている。

まとめ：フィラデルフィアのエコシステム

フィラデルフィアは、細胞・遺伝子治療の世界的なハブであり、「細胞」のセルをもじった「シリコンバレー（Cellicon Valley）」と呼ばれる。

図表 30：フィラデルフィアエコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2.5 ワシントン DC

概要

ワシントン DC 地域の最大の特徴は、政府研究機関及び規制機関が密集し、バイオベンチャークラスタの素地を形成していることにある。特に年間 450 億ドル（2022 年）¹⁸³と基礎研究分野での世界最大研究資金配分機関である NIH が君臨する他、新薬及び医療機器などの承認や規制を行う FDA、国立標準技術研究所（National Institute of Standards and Technology : NIST）、保健福祉省（Department of Health and Human Services : HHS）、軍研究機関などが林立している。さらに、製薬、バイオテクノロジー、医療機器業界向けに臨床試験サービスを提供する企業である、医薬品開発業務受託機関（Contract Research Organization : CRO）が多く存在するなど、研究支援サービス事業が充実している。

同地域のエコシステムで重要な役割を果たしているのが、非営利組織 BioHealth Innovation（BHI）である。同組織は、2011 年、メリーランド州モントゴメリー郡政府の提唱で、同地域の類を見ない研究インフラを梃子に、官 1 : 民 9 の割合で民間資金を呼び込むために設立された。民間からは、MedImmune、AstraZeneca、GlaxoSmithKline、Roche、Emergent Biosolutions、Qiagen、United Therapeutics、Becton Dickinson 等の企業が出資し、同組織が仲介者として、研究からビジネスへの橋渡しのスピードを速める役割を担っている。ベンチャー企業に対し、NIH の職員（分野のエキスパート）、ベンチャーキャピタル、コンサルタントなどからの製品開発のアドバイスを提供するサービスも行われている。さらに、同組織、AstraZeneca、チルドレンナショナル病院、ジョンズホプキンス大学等が中心となって、メリーランド州、バージニア州、ワシントン DC からなる BioHealth Capital Region（BHCR）を創設し、2023 年までに BHCR をバイオヘルスクラスタの全米トップ 3 にすることを目標として掲げ、フォーラムの開催、起業者と企業のマッチング、情報提供等全ての関係者の連携強化のための様々な活動が行われている¹⁸⁴。

主要プレイヤー

ワシントン DC 地域には、前述の連邦政府・軍関係機関である NIH、FDA、NIST 等が位置する他、2021 年度 NIH 研究費用を最も多く（8 億 2 千万ドル）獲得した研究機関であるジョンズホプキンス大学¹⁸⁵の他、バイオサイエンス分野で著名なジョージメイソン大学、メリーランド大学等がある。さらに、ハワード・ヒューズ医学研究所、ウォルターリード国立軍事医療センター、ジェイ・クレイグ・ヴェンター研究所といった研究機関、米国トップ 10 にランキングするチルドレンナショナル病院も拠点を置く。

¹⁸³ <https://www.nih.gov/ABOUT-NIH/WHAT-WE-DO/BUDGET#:~:text=The%20NIH%20invests%20most%20of%20its%20%2445%20billion.schools%2C%20and%20other%20research%20institutions%20in%20every%20state.>

¹⁸⁴ https://www.biohealthinnovation.org/images/2022/PDF/BHI_Main_July_2022.pdf

¹⁸⁵ <https://www.forbes.com/sites/michaelnietzel/2022/02/24/johns-hopkins-tops-list-of-leading-universities-for-nih-funding-in-2021/?sh=390343be4f73>

また、近郊のメリーランド州には、テルモ（医療機器・医薬品事業等）、同仁化学研究所（試薬）、VLP Therapeutics 社（ワクチン開発）をはじめ、多くの日系医療バイオ関連企業が活躍している。

図表 31 : ワシントン DC における主要プレイヤー

分類	名称
行政（州・市）	NIH、FDA、NIST、Center for Medicare and Medicaid Innovation、National Cancer Institute（NIH）、National Heart, Lung, and Blood Institute（NIH）、Fort Detrick
大学	ジョンズホプキンス大学、ジョージメイソン大学、メリーランド大学
研究機関・病院	ハワード・ヒューズ医学研究所、ウォルターリード国立軍事医療センター、ジェイ・クレイグ・ヴェンター研究所、チルドレンズナショナル病院、ジョンズホプキンス大学附属病院
民間企業	テルモ、同仁化学研究所、VLP Therapeutics、AstraZeneca、Roche、Emergent Biosolutions、Qiagen、Becton Dickinson
業界団体	BioHealth Innovation、Virginiabio、Maryland Tech Council
スタートアップエコシステム（ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等）	Maryland Technology Development Corporation（TEDCO）、New Enterprise Associates（ベンチャーキャピタル）

出所：各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

ワシントン DC の一番の強みは、連邦政府機関や国立研究所が集積しているという地の利にある。前述の BHI も、ワシントン DC 地域の強みとして、以下の 5 点を挙げている¹⁸⁶。

- ① ジョンズ・ホプキンス大学やメリーランド大学など、世界トップクラスの研究開発型大学から人材と知的財産のパイプラインが提供される。
- ② 年間 190 億ドルの研究資金を受ける NIH、ARL、NRL、NASAGoddard など 78 の国立ラボ及び研究機関から、高い技術力を持つ才能あふれた人材と臨床試験済みで商業化可能な技術のパイプラインが提供される。
- ③ FDA、Centers for Medicare & Medicaid Services（CMS）、HHS などの規制・政府機関は、エコシステムにおけるリーダーシップを発揮し、次にどのような変化が起こるかについてのインサイトを提供する。
- ④ 大学、国立研究所、政府の役職から、特に特許を有するハイテクベンチャー企業を立ち上げるための技術スキルを持つ人材が集積している。
- ⑤ 同地域には、多国籍企業から最先端のスタートアップ企業まで、2,300 社を超えるバイオヘルス企業が集積している。

¹⁸⁶ https://www.biohealthinnovation.org/images/2022/PDF/BHI_Main_July_2022.pdf

図表 32 : BioHealth Innovation 地域にある連邦政府・軍関連施設



注：赤丸は連邦政府及び軍関係機関

出所：BHI 資料¹⁸⁷を基にワシントンコア作成

まとめ：ワシントン DC のエコシステム

ワシントン DC は、他地域にはみられない政府研究機関が密集し、バイオベンチャークラスターの素地を形成しているという連邦政府の「ガレージ」「実験場」である。

¹⁸⁷ https://www.biohealthinnovation.org/images/2022/PDF/BHI_Main_July_2022.pdf

図表 38 : ワシントン DC エコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成

6.2.6 ノースカロライナ

概要

ノースカロライナ州のリサーチトライアングルパーク（Research Triangle Park : RTP）は、全米有数の研究開発型大学であるデューク大学、ノースカロライナ州立大学、ノースカロライナ大学チャペルヒル校の3校を結ぶ三角形の中に、1959年に設立された全米最大級のハイテクパークである。

同地域の第一の特徴は、その恵まれた立地環境である。ニューヨーク市とフロリダ州オーランドのちょうど中間に位置し、一日運転すれば全米60%の人にアクセスできると言われている。また、RTPすぐ近くにローリー・ダーラム国際空港、州内には2カ所の港、3社の鉄道会社があり、全米で最大の鉄道システムを有しているなど、優れた交通環境が整っている。さらに、同州の法人税は米国内最低の2.5%、全米平均を大きく下回る生活コスト、有名大学が立地し、同

州の博士号取得率は全米トップクラスであるなど人材の宝庫であることから、3年連続フォーブス社の Best State for Business 第1位を獲得するなど、そのビジネス環境が高く評価されている¹⁸⁸。

第二の特徴が、州を挙げての積極的な誘致支援活動である。米国で初めて州主導で設立された Biotechnology Center（1981年設立）、州政府・地方自治体・教育機関のエコシステムをつなぐ経済開発機関である Research Triangle Regional Partnership（1990年設立）が連携し、RTP コミュニティとして、同地域に進出を目指す企業やスタートアップ企業に対し、イノベーションから雇用創出サポート、マッチング、助成金、低金利ローン等多種多様な支援制度を実施している¹⁸⁹。

また、RTP コミュニティが重要視しているのは「多様化」であり、海外から同地域への積極的な誘致支援策が行われている。RTP パートナーシップのウェブサイトは日本語を含む8か国語で表示されている他、Biotechnology Centerが主導で海外企業を対象に、同州での事業展開を体感するための1週間のプログラム「International Soft Landing」が実施されている¹⁹⁰。このような様々な支援策が功を奏し、近年、日本を含む海外企業の新規進出や事業拡大投資が続いている。

図表 34：リサーチトライアングルにおける日本企業の進出状況



出所：RTP 資料¹⁹¹

¹⁸⁸ https://www.jetro.go.jp/world/n_america/us/grassroots-seminar/892a1de1c353dafd.html

¹⁸⁹ https://www.jetro.go.jp/world/n_america/us/grassroots-seminar/892a1de1c353dafd.html,
<https://www.linkedin.com/company/research-triangle-regional-partnership>,
<https://ncglobaleconomy.com/biotechnology/overview.shtml>

¹⁹⁰ https://www.jetro.go.jp/world/n_america/us/grassroots-seminar/892a1de1c353dafd.html

¹⁹¹ <https://www.researchtriangle.org/the-triangle/japanese/>

図表 35 : リサーチトライアングルにおける海外企業の進出状況



出所 : RTP 資料¹⁹²

主要プレイヤー

ノースカロライナでは、前述の Biotechnology Center 及び Research Triangle Regional Partnership という支援組織が中心となって、積極的な同地への誘致活動及びベンチャー育成を行っている。また、RTP の三点を結ぶデューク大学、ノースカロライナ州立大学、ノースカロライナ大学チャペルヒル校、我が国のアステラス製薬や富士フィルム子会社のフジフィルム・ダイオシンス・バイオテクノロジーズ (FDB) 、Eli Lilly 社といった世界のメガファーマも製造拠点を置いている。

図表 36 : ノースカロライナにおける主要プレイヤー

分類	名称
行政 (州・市)	ノースカロライナ州政府、ローリー市政府、ダーラム市政府、チャペルヒルタウン政府
大学	デューク大学、ノースカロライナ州立大学、ノースカロライナ大学チャペルヒル校
研究機関・病院	Institute for Medical Research、デューク大学附属病院、ノースカロライナ大学附属病院
民間企業	バイオ製薬 : アステラス製薬、フジフィルム・ダイオシンス・バイオテクノロジーズ、Eli Lilly ワクチンメーカー : Novartis、Pfizer、GlaxoSmithKline、Medicago、Seqirus
業界団体	North Carolina Biotech Center、Research Triangle Regional Partnership、North Carolina Biosciences Organization
スタートアップエコシステム (ベンチャー育成拠点、イノベーションハブ、インキュベーション組織等)	American Underground、First Flight Venture Center、Innovation Co-Lab、Launch Chapel Hill

出所 : 各資料を基にワシントンコア作成

有望分野

¹⁹² <https://www.researchtriangle.org/wp-content/uploads/2021/07/RTRP-FDI-brochure-spring-2021.pdf>

<医薬品開発業務受託機関（Contract Research Organization：CRO）>

ノースカロライナ州は、世界の研究開発アウトソーシング拠点である。80年代初頭、同州にCROパイオニアである Quintiles 社（現 IQVIA）と PPD 社が設立¹⁹³されたのをきっかけに、現在では州内の CRO は 150 社以上、従業員数 24,000 人以上、世界中で数万人の従業員を雇用し、年間売上高は約 300 億ドルにのぼるまでの一大拠点に成長した。これらの企業は、バイオ医薬品開発、生物アッセイ開発（biologic assay development）、商業化、前臨床および臨床研究、臨床試験管理など、幅広いサービスで製薬、バイオテクノロジー、医療機器企業や研究機関をサポートしている¹⁹⁴。

<ワクチン製造>

同州は、Novartis、Pfizer、GlaxoSmithKline、Medicago、Seqirus などグローバル製薬会社による ワクチン製造が盛んであり、「ワクチンの中心地（Vaccine Central）」と呼ばれている¹⁹⁵。Covid-19 パンデミックにより、同州に対する注目がますます高まり、治療薬及びワクチン製造・臨床試験を行うための主要な全米重要拠点となっている¹⁹⁶。また、TRP 郊外の Holly Springs 地域に 200 エーカーの敷地に、バイオ製造、研究施設等のライフサイエンス・キャンパス「The Yield」が建設される予定であり、同州最大のバイオ製造業の拠点が誕生する見通しである¹⁹⁷。

まとめ：ノースカロライナのエコシステム

ノースカロライナ・トライアングルリサーチパークは、行政と業界団体の積極的な誘致活動の下、「ワクチン製造」と「CRO 産業」の一大拠点に成長した。

¹⁹³ <https://www.ncbiotech.org/cro>

¹⁹⁴ <https://www.ncbiotech.org/transforming-life-sciences/sectors-attention/contract-service-organizations>

¹⁹⁵ <https://www.ncbiotech.org/news/four-nc-vaccine-companies-win-awards>

¹⁹⁶ https://www.jetro.go.jp/world/n_america/us/grassroots-seminar/892a1de1c353dafd.html

¹⁹⁷ <https://www.ncbiotech.org/news/200-acre-biosciences-campus-gets-underway-holly-springs>

図表 37：ノースカロライナエコシステム



出所：各資料を基にワシントンコア作成