



Highly Confidential

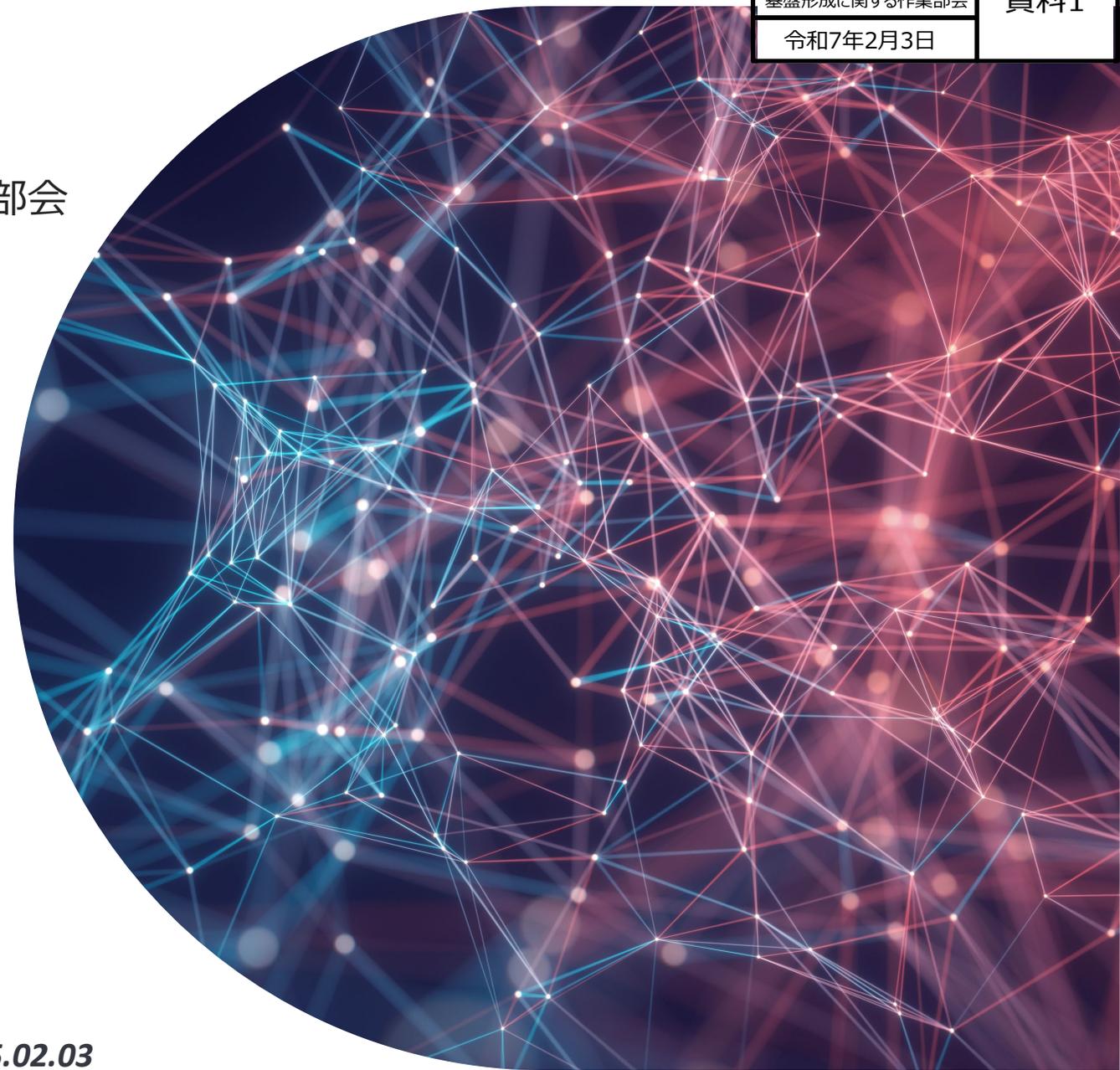
第3回
次世代医療実現のための
基盤形成に関する作業部会
令和7年2月3日

資料1

文部科学省
次世代医療実現のための基盤形成に関する作業部会
第3回

製薬企業によるバイオバンク・ データの利活用

武田薬品工業
R&Dグローバルリージョンジャパン
エクスターナルサイエンティフィックエンゲージメント ヘッド
寺尾寧子



背景

製薬企業R&Dの潮流

バイオバンク・データの利活用例

武田薬品工業の場合

Q&A

バイオバンク・データと製薬企業

製薬企業のニーズ

課題と未来

Our Challenges & future outlook

製薬企業R&Dの潮流

ここ10年で大きく業界の構造が変化
背景には新規モダリティの台頭、
水平分業化とニーズ⇔技術の細分化



グローバル化

シーズ創出から上市後まで常
に世界を見渡す必然性



創薬エコシステム活用

パイプラインの創出源
はアカデミア・スター
トアップへ



DD&Tへの注力

生産性向上
質の飛躍的向上



約 25

臨床試験段階にある
新規医薬品候補

新規作用機序品目で構成する
強固なパイプライン

約 50%

パイプラインのうち、少なくとも
1つの適応症/いずれかの地域で
オーファンドラッグ（希少疾病
用医薬品）指定の可能性がある
ものが占めています。

低分子化合物

75%

- ・ 生物学的製剤
- ・ 細胞療法
- ・ その他モダリティ
- ・ ペプチド・オリゴヌクレオチド

多様なモダリティ
（治療手法）

患者さんの視点を活用し、適切な
標的を適切なモダリティとマッチ
させ、厳格な実験を行うことで、
変革をもたらす可能性のある治療を
加速させます。



180+

積極的なパートナーシップ

パイプラインの60%以上をパート
ナーシッププログラムが占め、
サイエンスとイノベーションの
最前線で研究開発を進めています。
スタートアップ企業、バイオテック
企業、アカデミア等、さまざまな
外部パートナーと連携し革新的な
アイデアを共有しています。



約 7,299 億円

2023年度
研究開発費*

多数の品目の上市が見込まれる後期
開発プログラムに加え、開発初期に
ある重要なプログラムが複数進行し
ており、長期的かつ持続的な成長機
会をもたらします。

*2024年3月31日時点

グローバルハブで結ばれる日本とアメリカのタケダ研究開発拠点



研究拠点

先進的
プラットフォーム



湘南/アイパーク



ニューロサイエンス



消化器系・炎症性疾患



オンコロジー



タケダ ボストン

グローバル ハブ

ケンブリッジ：ボストン



国際共同治験

世界をリードするボストンの
オープンイノベーションエコシステム
を起点としたグローバル展開

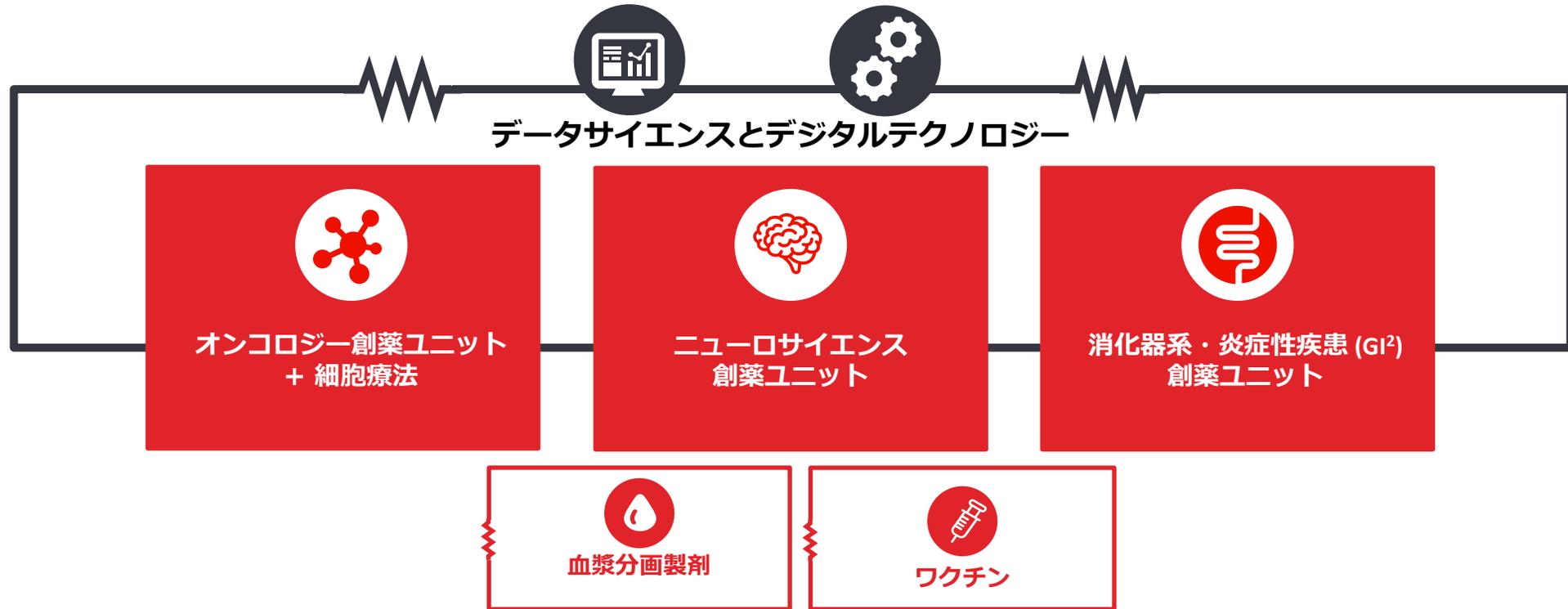


成長市場でのビジネス展開



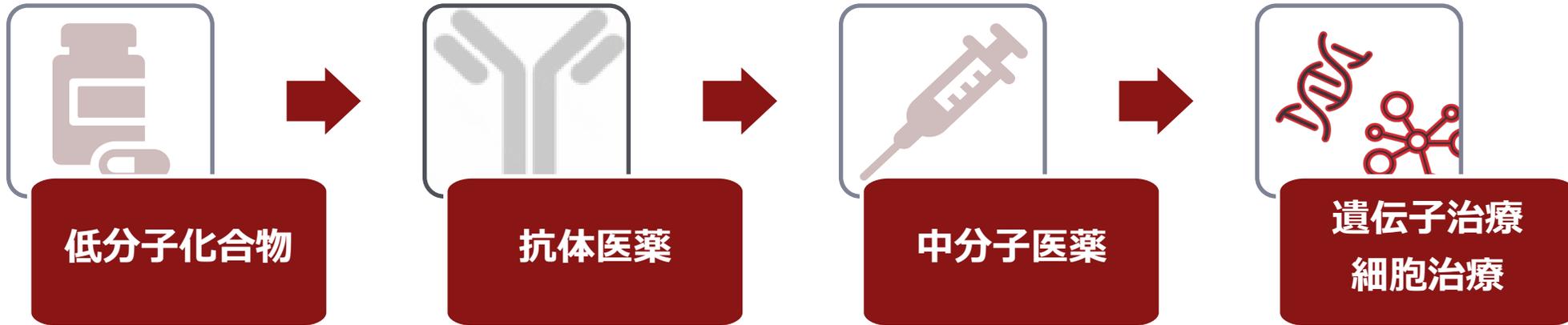
研究開発戦略

革新的なバイオファーマ



パートナーシップ

バイオ関連技術の進歩がもたらす治療実現手段（モダリティ）の多様化



低分子化合物

抗体医薬

中分子医薬

遺伝子治療
細胞治療

成功要因 少数のスーパーケミスト

至適標的分子の設定、
バイオテクノロジー

分子病理学の理解と活用

最先端のバイオテクノロジー
病態生理学の統合理解

課題 卓越した有効性と高度な安全性を両立する化学構造の限界

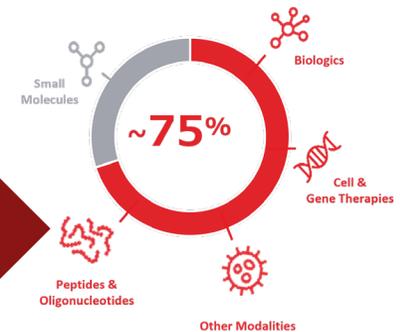
標的アクセスの限界

治療維持時間の制限

品質管理・橋渡し研究

Drug by Serendipity → *Data-Driven Medicine based on Data, Digital and Technology*

Drug For ALL : 大規模対象医薬品 (Mass Medicine) → Drug For Each : 精緻対象医薬品 (Precision Medicine)

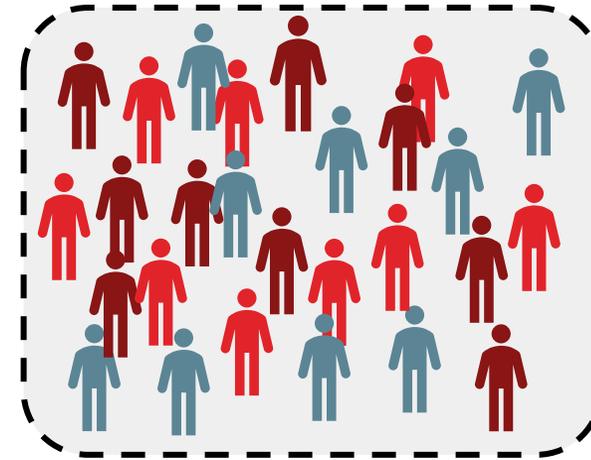


タケダのポートフォリオも約75%
が低分子以外のモダリティ

より高い有効性-安全性バランスと創薬成功確度を重視した創薬戦略



これまでの創薬プロセスでは現行の診断基準によって規定される患者集団に対する**平均の有効性**に基づいて成否を判断



Now

Future

共通する病因・病態を有する患者集団にフォーカスした臨床試験計画をデザインすることで、より高い有効性・安全性のバランスを追求し臨床試験成功確度も高める

New treatment strategy based on defined pathophysiology

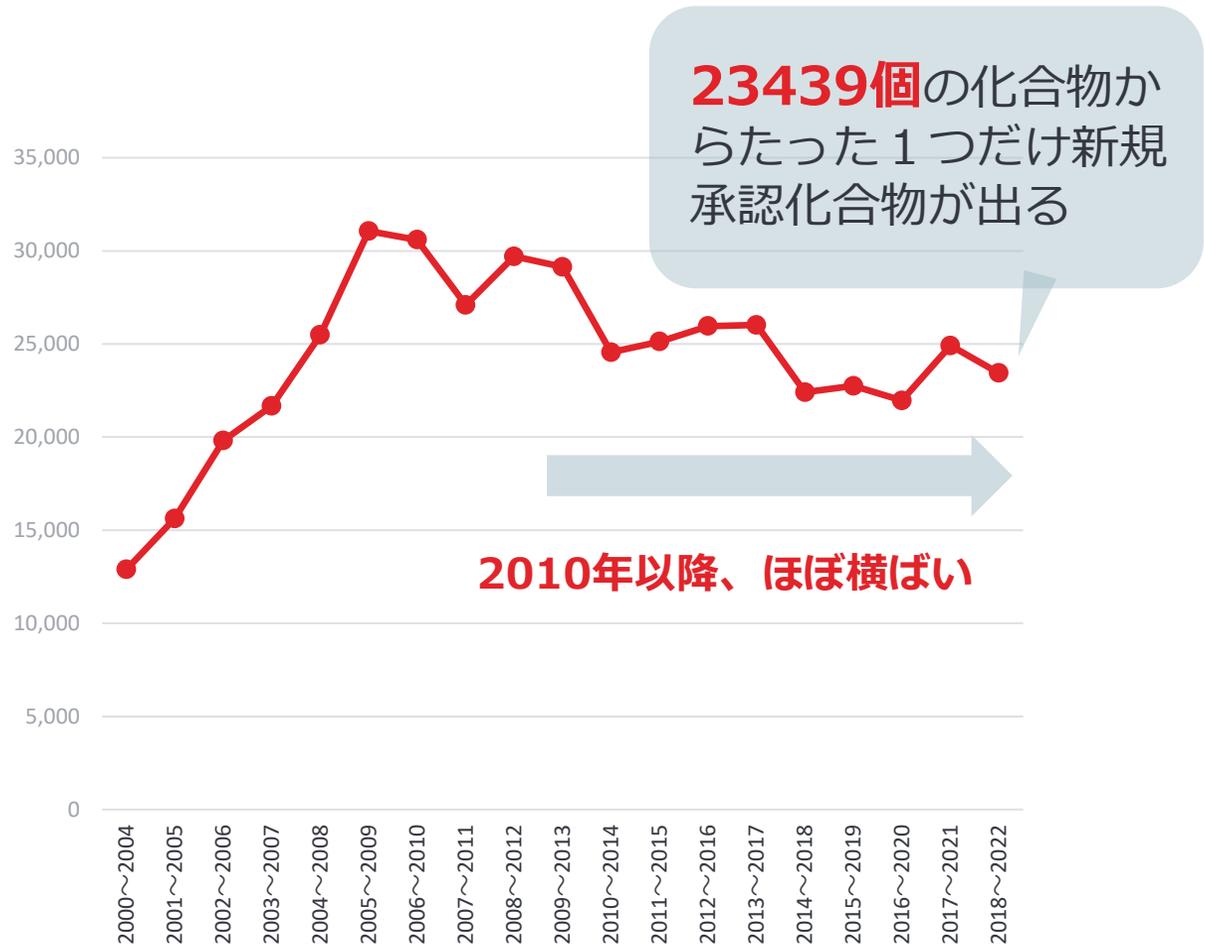


Modified from: Kajii Y, *Experimental Medicine* 35, 118-121, 2017.

一つの新薬を開発し、承認に至るまでに必要な化合物数（5年移動平均）

研究開発費は増加する一方だが、創薬の成功確率はほとんど向上していない

一つの新薬承認に必要な化合物数
(5年移動平均)



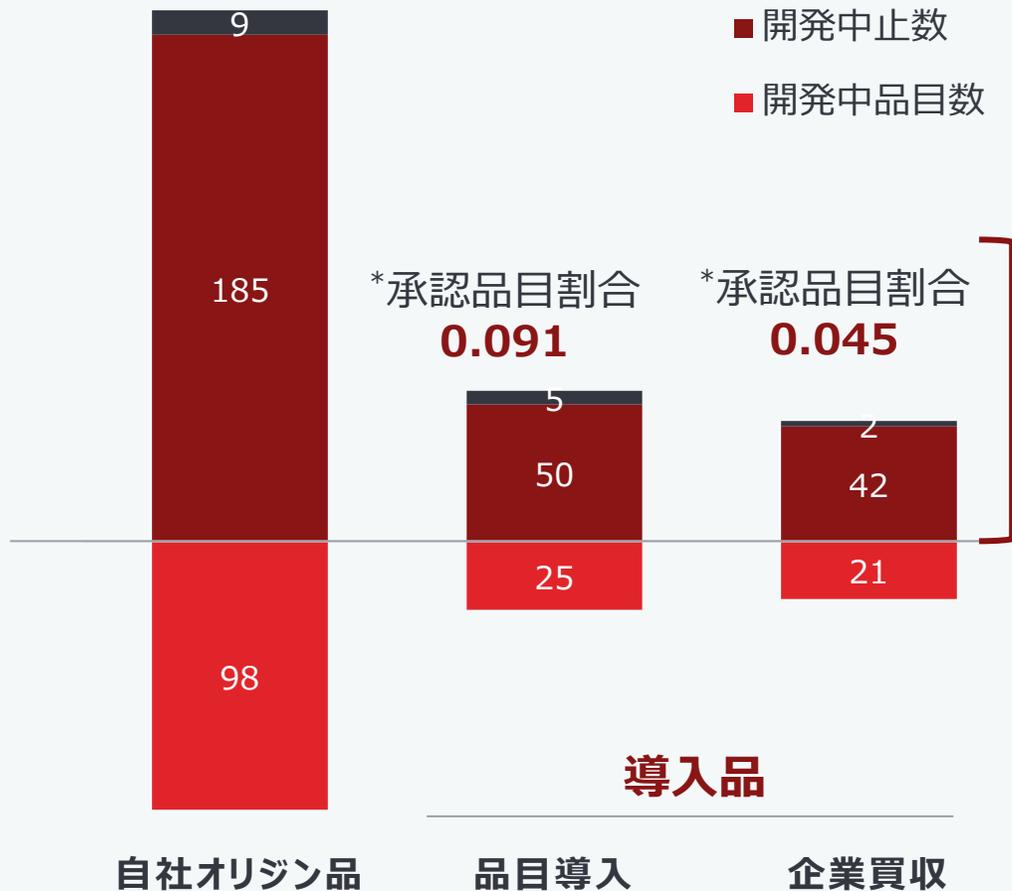
製薬企業の導入品への期待と課題



パイプラインに占める自社オリジナル品と導入品の品目数と承認品目割合

*承認品目割合
0.096

- 承認数
- 開発中止数
- 開発中品目数



内資・外資問わずパイプラインの源泉の一定部分を外部イノベーション導入に拠るのは必然となっているが。。。

導入品の*承認品目割合が
自社創出品の割合と比較して同等以下である



【課題】 導入品の価値を最大化できていない

$$*承認品目割合 = (\text{承認数}) \div (\text{承認数} + \text{開発中止数})$$



グローバルメガファーマが研究機能を
再強化するトレンドもある

日本の大手製薬企業のパイプライン分析～自社オリジンと外部導入の比較～
政策研ニュース No.69 2023年7月データを公表に改変
2010年以降にPhase1を開始した品目に限定して集計したデータを利用

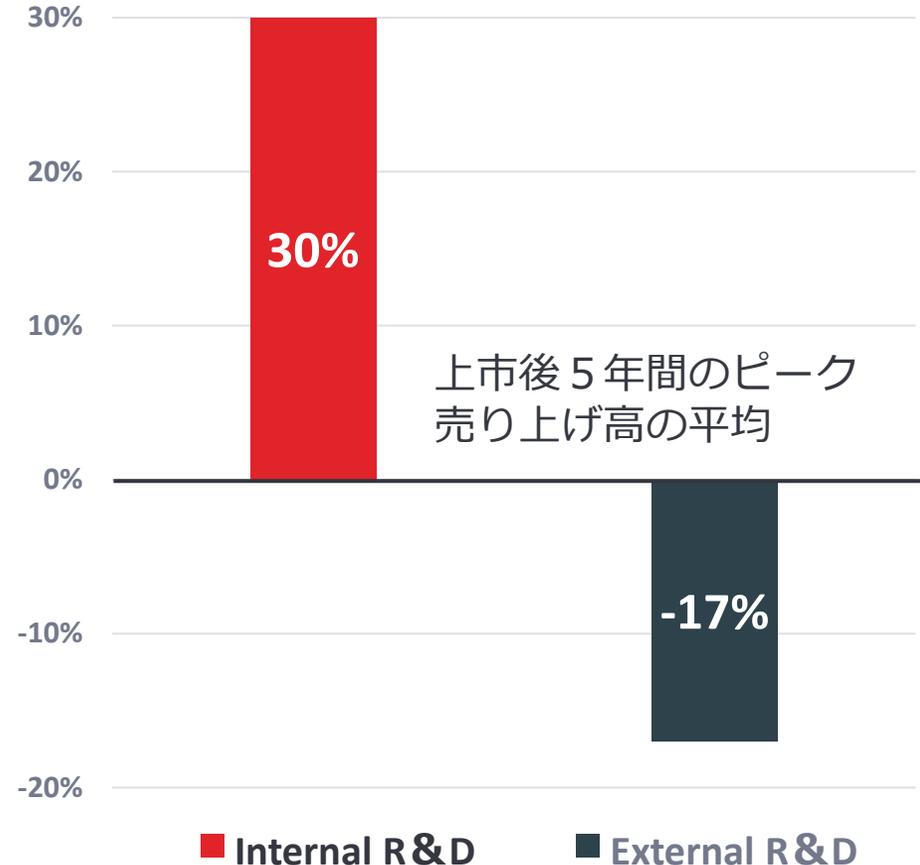
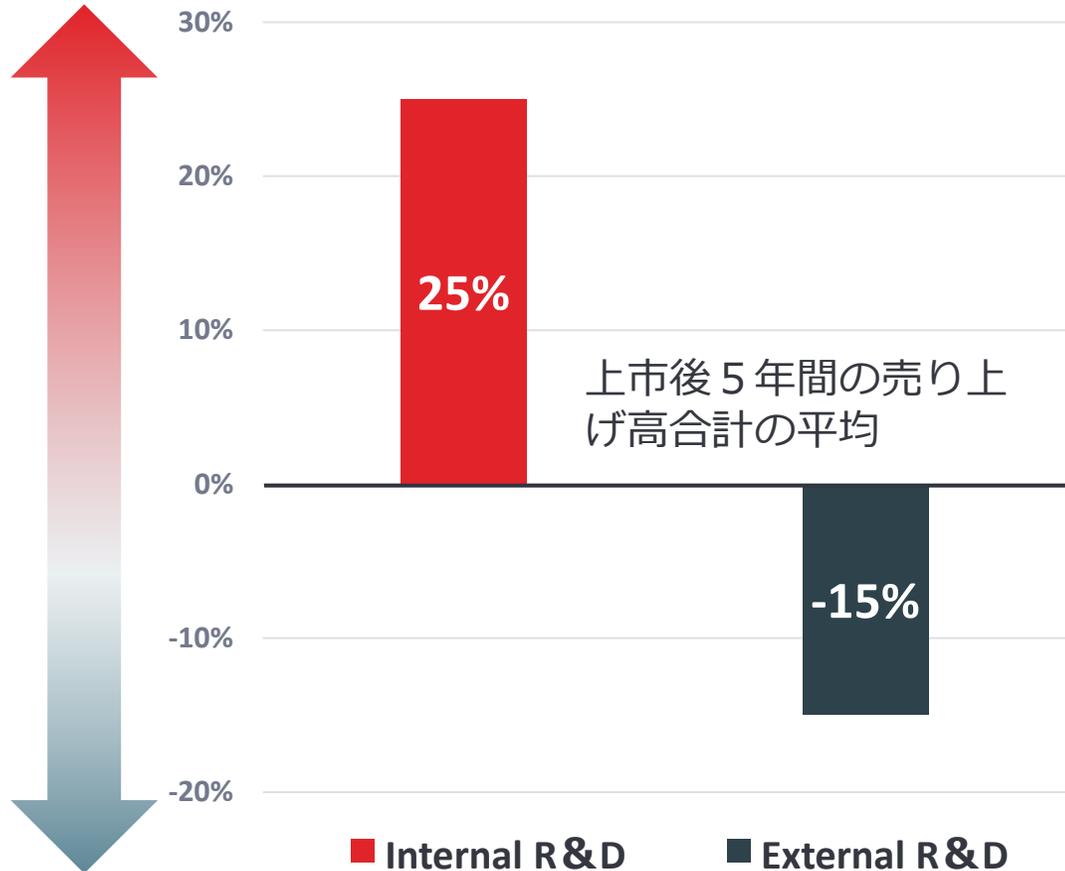
売上高から見ても導入品の価値最大化は不十分



開発戦略による製品売上高の比較
(Sales data for 2008-2022)

開発戦略による製品ピーク売上高の比較
(Sales data for 2008-2022)

Higher sales than averages



Lower sales than averages

(Source) Syneos Health: Internal R&D Versus Externalization: Which Pharma Strategy Yields Greater Success?

背景

製薬企業R&Dの潮流

バイオバンク・データの利活用例

武田薬品工業の場合

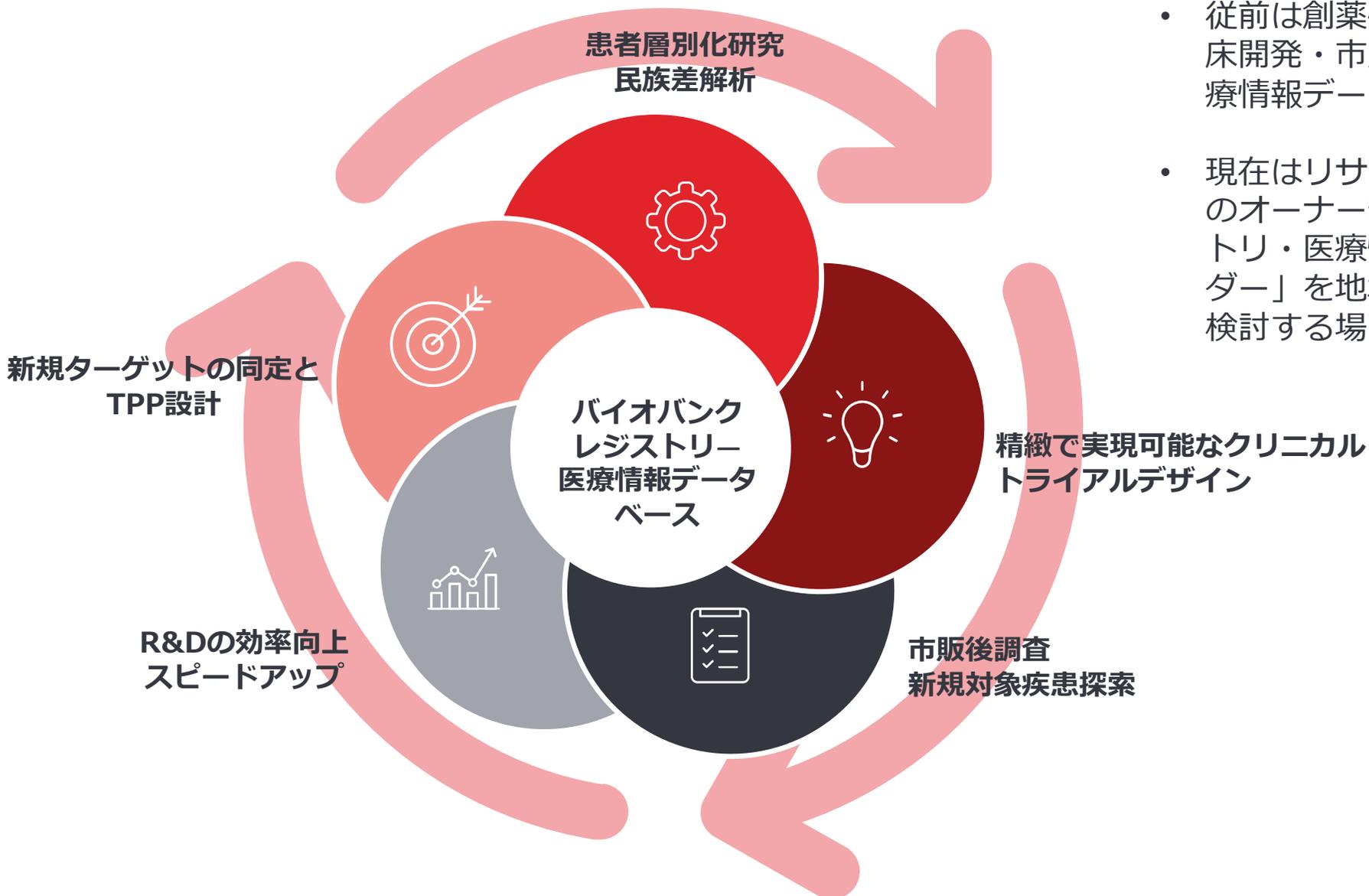
Q&A

バイオバンク・データと製薬企業

製薬企業のニーズ

課題と未来

Our Challenges & future outlook



- 従前は創薬研究部門がバイオバンクを、臨床開発・市販後研究部門がレジストリや医療情報データベース等分担
- 現在はリサーチ/クリニカルクエストのオーナー部門が「バイオバンク・レジストリ・医療情報データベース・データベンダー」を地域横断・縦断的に検索・利用を検討する場面が増えているのではないかと

背景

製薬企業R&Dの潮流

バイオバンク・データの利活用例

武田薬品工業の場合

Q&A

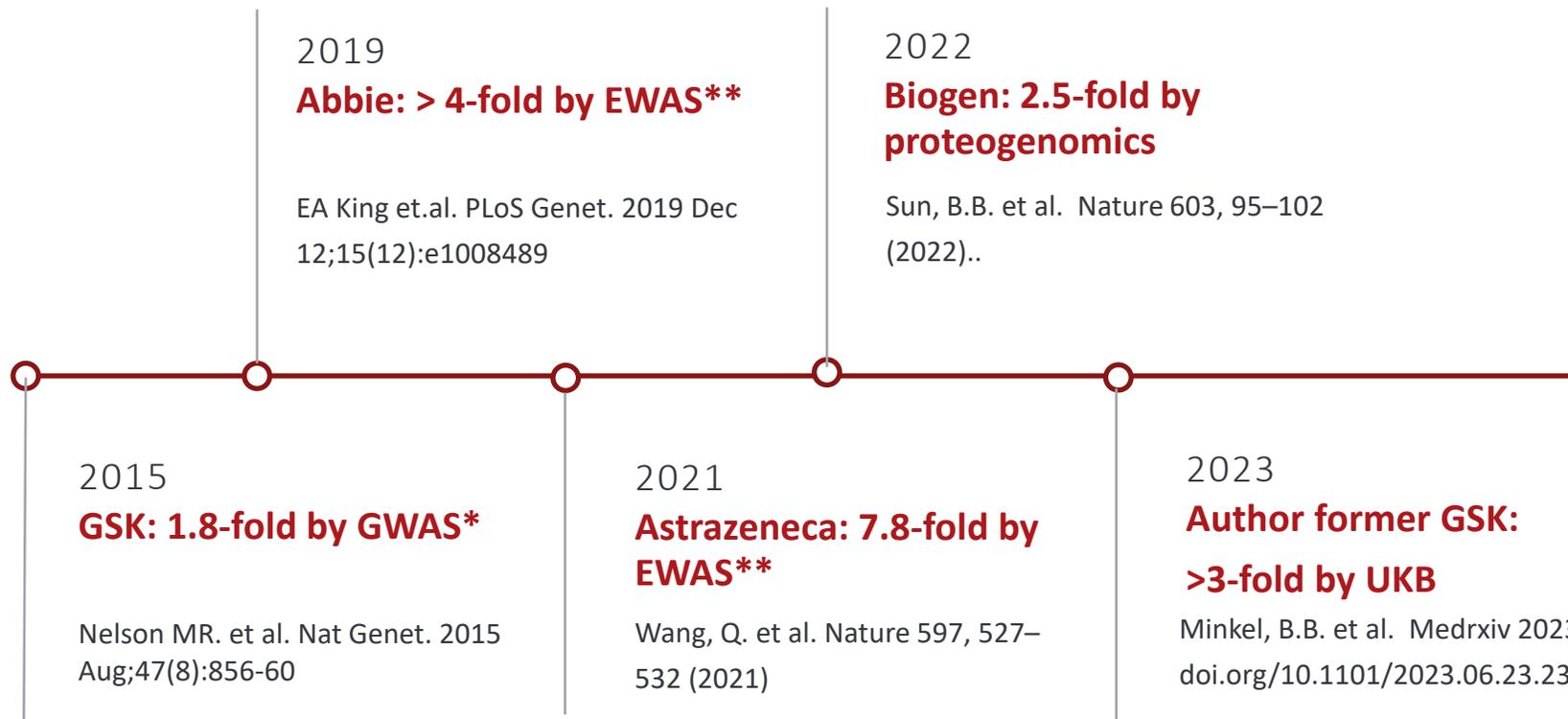
バイオバンク・データと製薬企業

製薬企業のニーズ

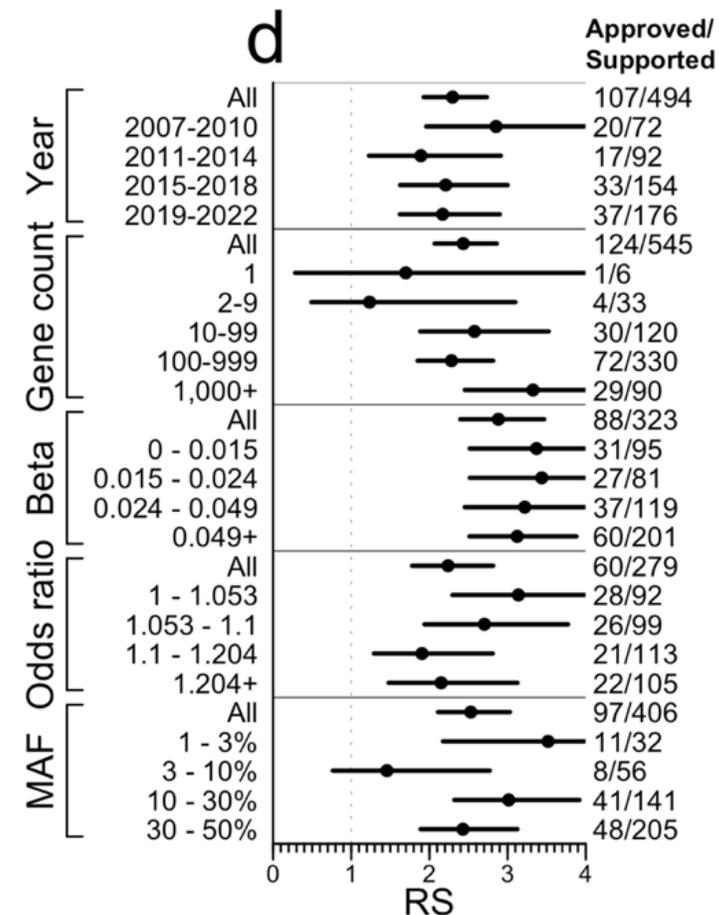
課題と未来

Our Challenges & future outlook

ターゲット探索における遺伝学的エビデンスの重要性



*GWAS: Genome-Wide Association Study
**EWAS: Exome-Wide Association Study

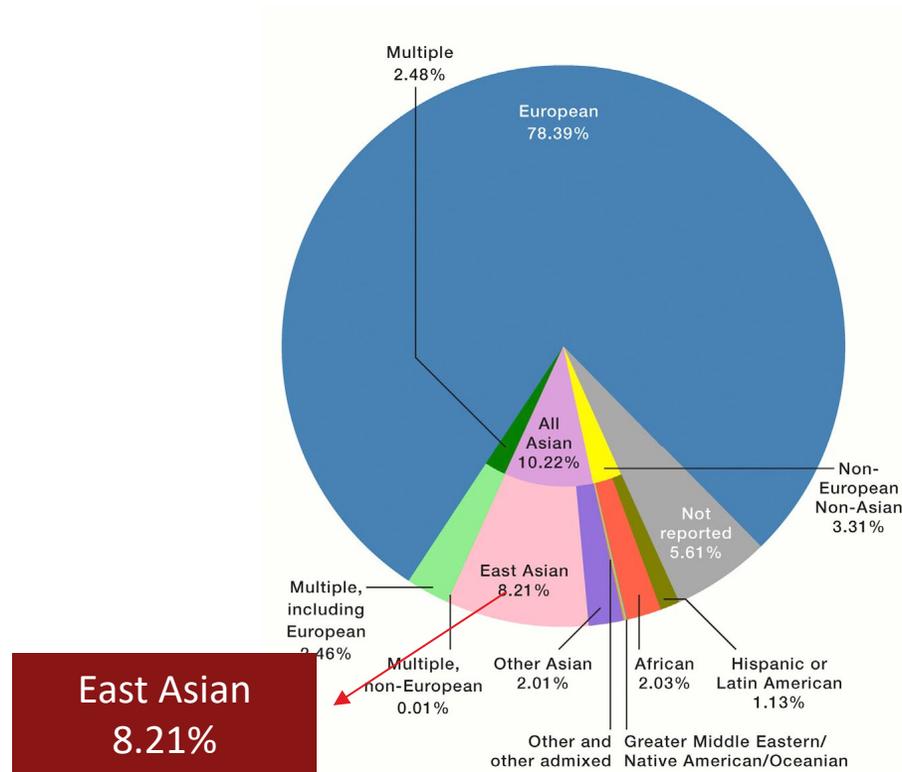


Genetic evidenceのあるターゲットは創薬成功率が高いことが複数の論文で報告されている

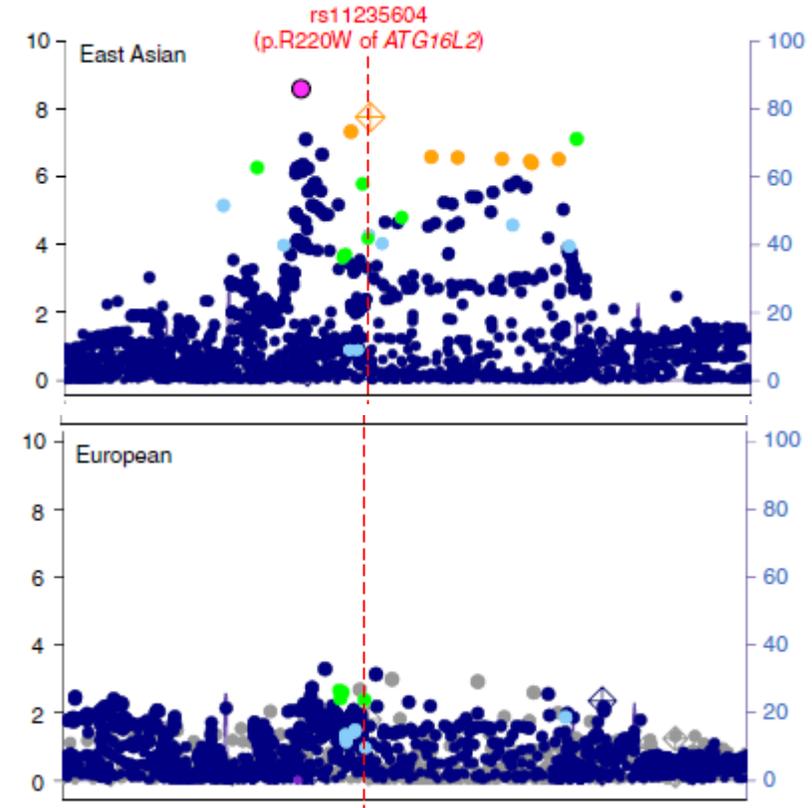
ヒト遺伝学研究における人種多様性の重要性



GWAS研究における集団カテゴリーの分布



東アジア人に特徴的な変異による新規関連



遺伝的関連研究の大部分は欧州集団で行われてきており、
欧州以外の集団で欧州集団に少ない機能的変異を解析することで新規遺伝的関連が見つかりうる

Sirugo G, et al. Cell. 2019;177(1):26-31

Ishigaki K, et al. Nat Genet. 2020;52(7):669-679.

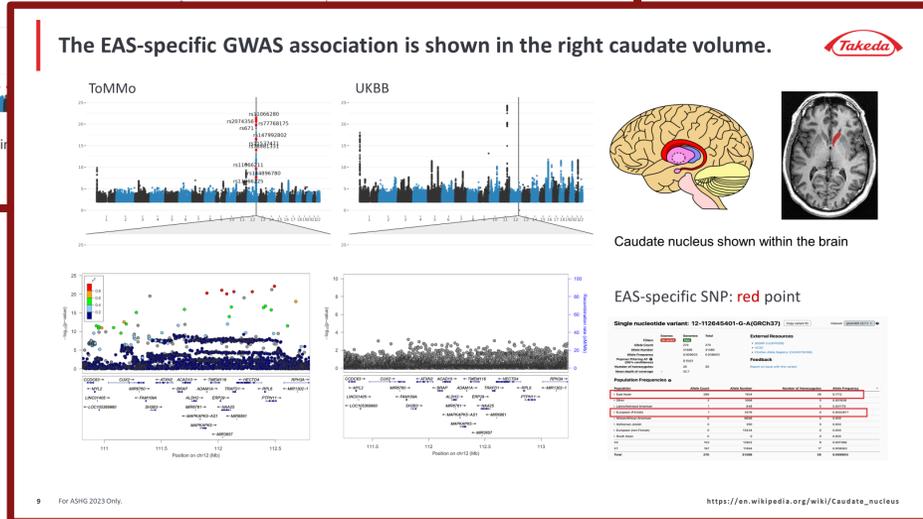
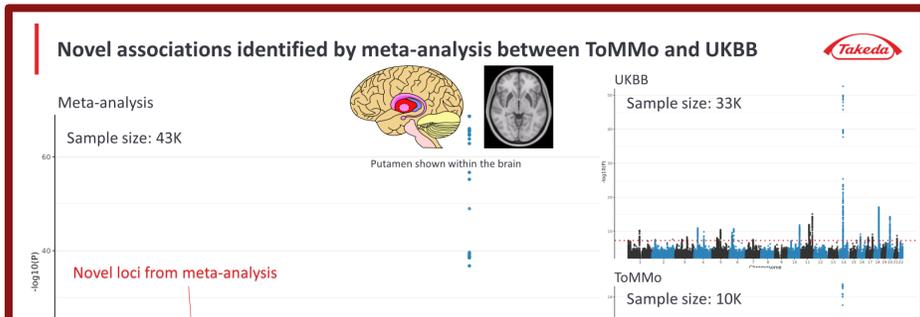
250203 文科省作業部会

ToMMoとの協業事例：リスク遺伝子の同定、デジタルバイオマーカー



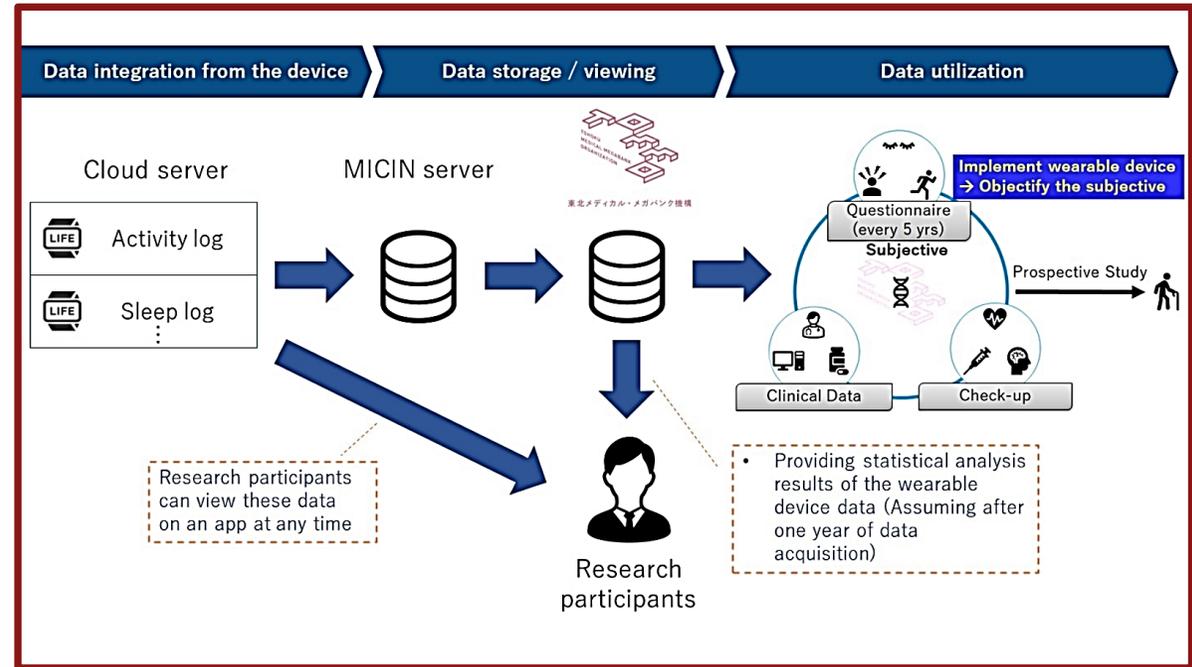
- A genome-wide association study of 10000 Japanese whole genome sequencing data to identify the risk genes for brain structure changes

Objective: to provide critical genetic insights specific to the Japanese population thereby advancing our knowledge of brain



- Joint Research to Collect a Year's Worth of Lifestyle Data Through Wearable Tracking Device

Objective: tracking data combined with cohort data to drive medicine of the future



Takeda Press Release

Thank You