



実施中の  
バイオテクノロジー：

# 早期計画と 開発のための ロードマップ

*With Heart*™

parexel®  
BIOTECH

# 私も多くの人と同じように、

愛する家族を不治の病で亡くしました。父が治療法のない進行性神経障害であるレビー小体型痴呆症（LBD）で他界したのです。生命を脅かす病気の大きな苦しみと、計り知れない重圧を担っている患者さん、介護者、ご家族のために、バイオテクノロジー企業は希望の光を与えてくれます。未来の治療法のために取り組む、今日の創薬のイノベーションの原動力なのです。

バイオテクノロジー企業は、優れた科学と情熱的なコミットメントの象徴です。しかし、提携や買収の出口戦略を含め、商業的な成功には多くのスキルが必要です。創薬は複雑で、リスクの高い取り組みであり、特に企業にとっては、資金調達、専門家の不足を補うこと、多様化するエビデンスの収集、変化するグローバルな規制環境への対応などが求められます。臨床、規制、市場アクセス、商業の各分野を早期にかつ持続的に統合することが、承認、保険償還、市場シェアを獲得するための最も確実な方法です。それはバイオテクノロジー企業にとって、新しい治療法を必要としている患者さんに届けるための最も確かな方法でもあります。

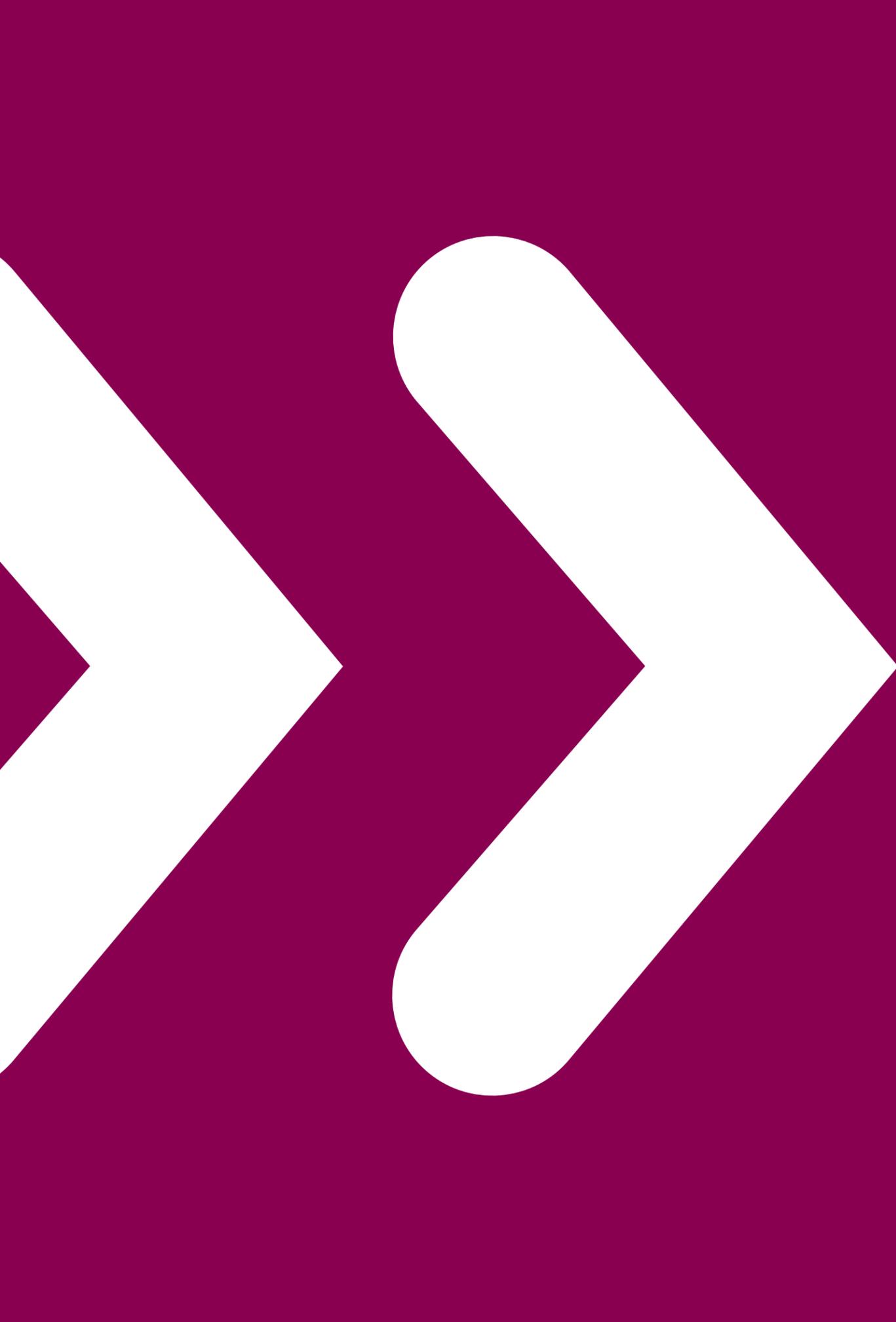
この電子書籍では、統合開発の最も重要な5つの側面について、Parexel Biotechの視点を紹介します。

- 保健当局との早期の面談を最大限に活用
- 適切で迅速な薬事承認パスウェイの選択
- 弱いデータを捨て、成功に集中する
- 患者さんを集め、維持するための臨床試験をデザイン
- 一貫性のある製品価値ストーリーの構築

貴社の商業的成功に役立つことを願っています。



Jim Anthony  
エグゼクティブバイスプレジデント兼グローバル責任者



# インサイト

規制当局や保険者の早期アドバイスにより、市場投入までの時間を短縮	4
早期計画は、迅速な薬事承認パスウェイを最大限活用することに役立つ	9
創薬の成功は患者さんから始まる	13
小さな会社ほど、迅速に「中止」することが重要	15
製品を商業的に成功させるためのバリューストーリーの作成	18
寄稿者	22

# 規制当局や保険者の 早期アドバイスによ り、市場投入までの 時間を短縮

2020年にFDAが承認した新薬の47%（25/53）は、従業員数500名未満のバイオ医薬品企業が開発しました。このデータが示すように、バイオテクノロジー企業はイノベーションの重要な源です。これらの企業はリソースが限定されており、規制当局や医療技術評価（HTA）機関と連携することで、創薬プロセスの落とし穴や遅延を回避するためのガイダンスをしばしば求めています。

中小企業にとって、規制当局やHTA職員と面談を行うことは、成功率を高め、市場投入までの時間を短縮するための最適な方法です。企業はこれらの面談のために念入りな準備を行い、フィードバックに基づいて行動してリスクを軽減し、合理化された規制プロセス、市場の独占、財政的インセンティブなどの利益を享受する必要があります。 >>>

Sangeeta Budhia, Ph.D.  
グローバルHTA戦略リード兼VP、価格設定と市場アクセス

Bridget Heelan, M.B., D.Phil.  
VP、規制コンサルティング

Steve Winitsky, MD  
VP、規制コンサルティング

## ➤➤➤ アドバイスを活用するための5つの方法：



### 1 適切な時に 適切な場所で 助言を求める

米国とEUには、どの製品や企業が早期に規制当局と対話するのに適しているかを定めた、確立されたフレームワークがあります（表1）。しかし、そのメリットを最大限に享受するためには、創薬の適切な段階で、面談を行うことが重要です。例えば、FDAの生物製剤評価研究センター（CBER）の職員とのInitial Targeted Engagement（INTERACT）面談は、短時間で負担にならず、無料で行うことができます。これは新しいクラスの医薬品や新規プラットフォーム技術を開発する企業にとって有益です。しかし、面談のスケジュールが早すぎたり、遅すぎると効果的ではありません。CBERに相談する最適なタイミングは、動物実験やin vitroでの実証実験（POC）から予備

データを収集後、最終的な前臨床試験を開始する前です。

その時点で規制当局は、CBERが関連性がないと考えているヒト以外の霊長類での大規模な試験など、不必要な前臨床試験の実施回避を支援することができます。しかし、すでにIND申請準備ができているプロセスに進んでいる場合、彼らの推奨事項に基づいて対策するには遅すぎます。

EUでは、EMAのイノベーションタスクフォース（ITF）の説明会議が、適格な製品または技術を持つ企業に、機関の専門家との「非公式の科学的なブレインストーミング・ディスカッション」の機会を提供しています。ITFの説明会議は、正式な科学的助言（SA）が通常求められるよりも遥かに早い段階で、革新的な医薬品、新技術、境界領域の製品の市場投入までの道のりに関する疑問を解決することが目的です。これらの説明は、開発の初期に技術や規制上の助言を求める

中小企業や研究機関の研究者にとって、非常に有益なものです。

EUでは、迅速評価の基準を満たしている製品については、探索的な臨床試験を終えた後、すぐに優先度の高い医薬品スキーム（PRIME）の指定を申請するのが最善です。PRIME製品は、その後の開発においてEMAとの対話の恩恵を受けることができ、販売承認申請（MAA）審査プロセス中に、迅速評価の対象となる可能性があるためです。

ヨーロッパで新しい治療薬を発売しようとしている企業は、どのHTA機関にアプローチするかを決める必要があります。ヨーロッパにおけるHTAの状況は、27のEU加盟国において、地域、地方レベルで、50以上の異なる機関が存在しています。HTA機関との面談を受けるためには、企業がピボタル臨床試験（通常は第III相検証的試験）のデザインについてのガイダンスを求めている必要があります。HTA機関は、概念実証（Proof of

Concept）や安全性確認試験に関する助言は行いません。その他の適格性基準には、対象となる適応症に対して新しい作用機序を示す製品、生命を脅かす疾患や慢性的な消耗性疾患を対象とする製品、アンメット・メディカル・ニーズを満たす製品などが含まれます。

企業はHTAプロセスの厳密さ、市場の不確実性レベル、臨床における標準治療（SOC）、前例のない評価、その国の患者人口の規模などに基づいて、相談するHTA機関を選択する必要があります。例えば、ドイツでは該当する疾患の患者さんが少数であり、イギリスやポルトガルに患者さんが多い場合では、ドイツの医師、病院、医療保険機構の主な意思決定機関であるドイツG-BAにガイダンスや保険償還を求めないように顧客企業に助言することがあります。



## 2 早期の助言の 限界を理解 する

早期に助言を求めることは、ピボタル臨床試験のデザインを最適化し、成功の可能性を高めるのに役立ちますが、そのような助言には限界があります。助言には拘束力がないため、規制当局とHTAの担当者は、数年後に製品を正式に評価するときに、そのガイダンスから逸脱する可能性があるのです。臨床試験のデザインについての助言に従ったとしても、審査官が臨床データやリアルワールド・エビデンス（RWE）をより詳細に検討した結果、承認や保険償還に十分であると評価してもらえないとは限りません。それは試験結果、つまり安全性と有効性のデータによって決まります。

第二の難点は、企業が面談できるのは、少数の規制当局とHTA機関だけであるため、初期のフィードバックの幅が限られていることです。また、早期の助言は、5～10年後に起こる市場の変化に対応できません。SOCを変える競合製品の発売は、製品の実用性や、ピボタル試験で使用したアクティブコンパレーター（同じ適応症に対する治療選択肢の比較）の関連性に影響を与える可能性があります。

説明文書に含まれている実質的な情報が限定されていたり、重要な問題に対するフィードバックを求めなかったりすると、将来の成功に対する誤った安心感を持ってしまうかもしれません。重要な問

題について合意に達することなく終了する面談は、開発の遅れやコスト増加につながる可能性があります。しかし、HTA機関の助言に従わないことを決断した場合、彼らの懸念を知ることで、助言に従わない正当な理由を代替の研究などによって、十分に文書化したものを準備することもできます。

## 3 簡潔で分かり やすい説明文 書を作成する

説得力のある説明文書には、選択したアプローチや方法論の根拠を含め、助言が必要な事項がすべてが含まれていなければなりません。開発計画は、データ、関連する文献、そして論理によって裏付けられる必要があります。機関に開発計画の選択を頼むべきではありません。

説明文書は網羅的であるべきですが、簡潔でなければなりません。指針となるような問題についてのみ、詳細なデータを記載してください。臨床試験のデザイン選択を正当化し、必要に応じて、その他の従来のアプローチが機能しない理由を説明します。

早期助言のための面談の場では、全員が説明文書を読んでいることが想定されま

す。面談の半分を、スライドを使った講義に費やさないでください。代わりに、簡単に概要を説明してから、質問を開始するようにしましょう。目的は自分たちの手法を説明し、最も合理的で、効率的な開発計画について指導を受けることです。自分たちの新しい治療薬を宣伝する時間ではありません。

これらの面談に参加した経験がない場合には、高品質の説明資料を作成し、事前に準備することで、備えることができます。Parexel Biotechでは、早期助言のための面談の5か月前までに、中小企業と提携して、模擬プレゼンテーションや質疑応答セッションを行うことがよくあります。

# 4 目的を絞った質問をする

家屋の検査官に「家全体は大丈夫ですか？」と尋ねることはなくても、「屋根は雨漏りしませんか？」と確認することはあるかもしれません。これと同様に、早期助言のための面談の場合、一般的な意見を求めないでください。規制当局や保険者は、複数の選択肢がある場合、開発の意思決定を下すような責任を負いたくはありません。「どの対策が最適ですか？」や「どの方針が良いですか？」などの質問は役立ちません。規制当局には、そのような質問に答える専門知識も、権限もないのです。

その代わりに、規制当局からのフィードバックが有益なプログラムの側面に焦点をあて、戦略が実行可能かどうかを明確にするために質問をしてください。意思決定の科学的根拠を提供後、アプローチの長所と短所や特定のリスクを軽減する方法について議論します。「これは十分ですか？」や「これに同意しますか？」といった質問をし、「私たちはこれをしないことを提案しますが、その理由はこの通りです」のように主張を述べてください。

ヨーロッパのHTA機関と関わる前に、市場について事前学習してください。地域の医療、特にその市場で使われているSOC、アンメット・ニーズ、HTA評価方法に精通しましょう。

入念な準備にもかかわらず、計画に抵抗を受けたとしても、身構える必要はありません。対立をしないように質問をして、その答えに注意深く耳を傾けます。面談中は何も同意しないでください。HTA担当者から懸念、警告、質問、批判を聞くことを予期しておく必要があります。彼らの意見に感謝し、推奨事項を検討することに同意しましょう。そしてそのフィードバックを活用して、臨床的および商業的目的をサポートするためのより良いエビデンス生成計画を作成します。

表1. 米国（規制当局のみ）とヨーロッパ（規制当局と医療技術評価機関）における早期関与のためのプログラムと仕組み

早期助言の機会	導入年度	助言の種類と形式	適格性基準
<b>米国</b>			
<a href="#">CDER中小企業および産業支援 (SBIA)</a>	該当なし	電話やメールで質問に回答。ウェビナー、会議、ワークショップを開催。Webでの学習チュートリアル、電子メールでの最新情報、電子ニュースレターを提供。	関連会社を含め、従業員数が500名以下の事業所。
<a href="#">CBER製品に関する規制アドバイスのための初期ターゲットエンゲージメント (INTERACT)</a>	2018	<ul style="list-style-type: none"> <li>CBERおよび/またはOTATスタッフとの1回の非公式、拘束力のない1時間の電話会議</li> <li>具体的なCMCおよび薬理学/毒性学の問題に的を絞った議論</li> <li>不必要な前臨床またはその他の予備研究を回避する</li> </ul>	開発初期段階にあるCBER規制製品で、複雑な製造技術、革新的なデバイスの開発、または最先端の試験方法に起因する未知の安全性プロファイルによる固有の課題に直面している。
<a href="#">IND申請前の相談</a>	1988	助言を求める1回の面談： <ul style="list-style-type: none"> <li>動物試験を含む、非臨床薬理学、毒性学、薬物活性研究のデザイン</li> <li>主要なCMCの問題</li> <li>第I相試験の範囲と設計</li> <li>IND書式作成</li> <li>臨床試験差し止めを回避するための戦略</li> </ul>	IND申請前、POC研究後の新製品または適応症。 新規または経験の浅い試験依頼者に最も有効。  <b>2008年から2012年まで</b> 、IND申請前の面談ありで開始した医薬品の臨床開発期間の中央値は6.4年で、面談なしの医薬品は8.3年でした。
<a href="#">第I相の終了時 (EOP1) 面談</a>	1988	選択したテーマを論評： <ul style="list-style-type: none"> <li>薬物動態と薬力学</li> <li>第II相プロトコルの目的とデザイン</li> <li>第III相対象手段、小児科研究、データ品質測定の妥当性など、その他のテーマ</li> </ul>	新製品または適応症。
<a href="#">CBER先進技術チーム (CATT)</a>	2019	以下のような（製品/適応症以外の）高度な製造および試験技術について、質問への回答を含め、CBER職員と話し合う。 <ul style="list-style-type: none"> <li>連続製造プラットフォーム</li> <li>ユニット操作とエンドツーエンドの自動化</li> <li>高度な分析試験をサポートするように設計されたプラットフォーム</li> </ul>	製品開発、製造プロセス、管理戦略、または規制見直しに大きな影響を与える可能性のある先進技術。CBERの経験が少ない製品または製品クラス <small>の製造と分析方法が含まれます。</small>
<a href="#">画期的な治療薬 (BT)</a>	2012	<ul style="list-style-type: none"> <li>開発期間中の機関の審査チームとの定期的な面談</li> <li>非臨床および臨床データを含む効率的な開発計画についての集中的なガイダンス</li> <li>シニアマネージャーと経験豊富な審査担当者による「分野横断的な共同」レビューの実施</li> <li>プロジェクトマネージャーは、開発プログラムの効率的なレビューを調整し、審査チームの分野横断的メンバー間の科学的な調整役を果たす</li> <li>マーケティングアプリケーションの優先審査やローリングサブミッション（新薬の段階的承認申請）の可能性</li> </ul>	重篤な疾患の治療を目的とした医薬品で、臨床的に重要なエンドポイントにおいて、利用可能な治療法よりも「かなりの」改善を示す可能性があることを示す予備的な臨床証拠がある場合。  <b>2012年から2020年まで</b> 、 <a href="#">BTリクエストの41%が許可されました</a> 。2020年、BT指定薬の <b>91%</b> (21/23) が、希少疾患用でした（全体には、CBERが承認したBT薬であるCAR-T療法Tecartusを含む）。
<a href="#">再生医療先端治療 (RMAT)</a>	2016	<ul style="list-style-type: none"> <li>開発プログラム期間中の機関の審査チームとの定期的な面談</li> <li>非臨床および臨床データを含む効率的な開発計画についての集中的なガイダンス、および潜在的な代理エンドポイントまたは中間エンドポイントについての議論</li> <li>シニアマネージャーと経験豊富な審査担当者による「分野横断的な共同」レビューの実施</li> <li>迅速承認および患者登録データやその他のリアルワールドデータを承認後の経路で利用できる可能性</li> </ul>	細胞または遺伝子治療、治療用組織工学製品、またはヒト細胞と組織製品（またはそのような治療法や製品を使用した組み合わせ製品）*であり、重篤または生命を脅かす状態に対処し、予備的な臨床証拠により、満たされていない医療ニーズに対処する可能性が示されていること。  <b>2017年から2020年まで</b> 、RMAT申請の39% (58/149) が許可されました。

表1の略語の説明

CAT：EMAの先端医療委員会。CBER：FDAの生物製品評価研究センター。CHMP：ヒト用医薬品委員会。CMA：条件付き製造販売承認。CMC：化学・製造および品質管理。EMA：欧州医薬品庁。EUnetHTA：欧州医療技術評価ネットワーク。F2F：対面。FDA：食品医薬品局。HTA：医療技術評価。IND：治験薬。MAA：販売承認申請。MOA：作用機序。NMPA：国家薬品监督管理局。OTAT：組織・先進治療部。RCT：ランダム化比較試験。RWE：リアルワールドエビデンス。SAWP：科学的助言作業部会。SME：中小企業。

\*特定のヒト遺伝子治療や異種細胞製品も、再生医療治療の定義を満たす場合があります。

# 5 必要に応じて反論する

HTA機関が臨床試験に何年もかかる可能性のある追加の分析や、エンドポイントを提案することが予想される場合は、データを使って丁寧に反論する準備をしておきましょう。面談の前に前例の決定を調べ、その他の裏付けとなるデータを集めておきます。提案されたエンドポイントが実行可能でないと、または必要ではないと考える場合には、同等の品質と関連データを生成する別の方法を説明します。

EU域内では、規制当局との助言セッションの議事録は、集中的な手続きをとる場合も、分散的な手続きをとる場合も、今後のMAAに含める必要があります。すべての関与を文書化し、実行した助言、あるいは取り入れなかった助言を正当化する必要があります。これは査定者にとって、特に興味深いものとなるでしょう。

## 早期の助言は迅速な結果を生むことができる

規制当局は、企業が医薬品の有効性実証に成功することを望んでおり、その目的を達成するために、臨床試験デザインに関する早期の情報提供を喜んで行います。同様にHTA機関は、企業がよりスマートなデータ収集および商業化計画を策定することを支援できます。これらの会議を賢く利用することで、製品を必要とする患者さんに迅速に提供を行うことができます。

表1. 続き

早期助言の機会	導入年度 助言の種類と形式	適格性基準
<b>ヨーロッパ</b>		
<a href="#">中小企業 (SME) 局</a>	2005	電話、電子メール、電話会議による直接支援、または規制戦略についての説明会議。
<a href="#">イノベーション作業部会 (ITF)</a>	2001	<ul style="list-style-type: none"> <li>革新的な医薬品、新技術、境界領域の製品の開発から生じる科学的、技術的、規制上の問題について話し合うための非公式面談</li> <li>情報交換を促進し、ガイダンスを提供する</li> <li>EUのイノベーションネットワークの専門家、作業部会、委員会が主導する議論</li> <li>面談は無料で、約1.5時間</li> </ul>
<a href="#">科学的な助言 (SA)</a>	2004	<ul style="list-style-type: none"> <li>開発中に実施する適切な試験と研究の数とデザインについての助言 — EMAとEU加盟国の国家監督当局 (NCA) から入手可能</li> <li>EMAは開発者からの質問に書面で回答する (科学的助言作業部会[SAWP]は必要に応じて試験依頼者を招待し、面談することがある)</li> </ul>
<a href="#">プロトコル支援</a>	2004	SAに加えて、希少疾患を対象とした製品の開発者は、希少疾患適応症で「有意な」ベネフィットを示すものは何か、他の医薬品との類似性や臨床的優位性を示すものは何かなど、希少疾病用医薬品の承認基準に関する質問に対する回答を得ることができます。
<a href="#">EMA-EUnetHTA並行相談 (1)</a>	2017	<ul style="list-style-type: none"> <li>EMAおよびHTA機関からの並行するエビデンス生成計画についての科学的助言</li> <li>各製品には、SAWPコーディネーター (EMA) とEUnetHTA科学コーディネーターおよび報告者 (EUnetHTA) が割り当てられる</li> <li>規制当局と保険者のニーズを満たす、「最適」で「確かな」エビデンスについての助言</li> <li>2つの初期対話 (ED) 形式が利用可能：1) 書面のみ形式 (試験依頼者説明書の受領から2.5か月)、2) F2F面談 (3.5か月)</li> <li>最終的な結果には、最終のCHMP科学的助言/プロトコル支援レターおよびEUnetHTAの最終書面推奨事項が含まれる</li> </ul>
<a href="#">EUnetHTAマルチHTA早期対話 (ED)</a>	2017	<ul style="list-style-type: none"> <li>試験依頼者は開発計画についての詳細な説明書を提出し、以下を取得します。</li> <li>複数のHTA機関からの統合された拘束力のない科学的助言 (EMAの助言なし)</li> <li>HTAはどの「最適」で「強力」なエビデンスが、ニーズを満たすかを助言する</li> <li>HTAが一致しない場合、個別のHTAが質問に個別に回答する</li> <li>利用可能な2つのED形式：1) 書面のみ形式 (試験依頼者説明書の受領から2.5か月)、2) F2F面談 (3.5か月)</li> <li>最終的な結果には、EUnetHTAの最終書面推奨事項が含まれる</li> </ul>
<a href="#">優先度の高い医薬品スキーム (PRIME)</a>	2016	<ul style="list-style-type: none"> <li>試験依頼者は開発計画についての詳細な説明書を提出し、以下を取得します。</li> <li>複数のHTA機関からの統合された拘束力のない科学的助言 (EMAの助言なし)</li> <li>HTAはどの「最適」で「強力」なエビデンスが、ニーズを満たすかを助言する</li> <li>HTAが一致しない場合、個別のHTAが質問に個別に回答する</li> <li>利用可能な2つのED形式：1) 書面のみ形式 (試験依頼者説明書の受領から2.5か月)、2) F2F面談 (3.5か月)</li> <li>最終的な結果には、EUnetHTAの最終書面推奨事項が含まれる</li> </ul>

(1) EUnetHTAはEU加盟国、EU加盟候補国 (加えて欧州経済領域と欧州自由貿易連合諸国) の政府が任命した組織と、欧州でHTAを実施または貢献している関連地域機関および非営利団体のネットワークです。



# 早期計画は、迅速な 薬事承認パスウェイを 最大限活用することに 役立つ

Mark Mathieu  
戦略研究ディレクター

Skip Sands, MD  
SVP、シニアメディカルオフィサー、米国

2020年にFDAの医薬品評価研究センターが承認した新薬の68%（36/53）が、1つまたは複数の迅速な開発・審査メカニズムを利用しています（表2）。抗がん剤では1つの適応症につき平均で4つを使用しました（表3）。このデータが示すように、ほとんどの企業は、医薬品開発を迅速化するために特別な規制メカニズムを使用しています。

本来の目的は販売承認を得ることのほずですが、企業は迅速な指定を得ることに振り回されてしまうことがあります。臨床開発を合理化したり、負担の大きい要件を課さずに、ビジネスの価値を高めるような迅速化プログラムは有効です。しかし、それらは目標とするターゲットプロダクトプロファイル（TPP）を定義し、薬事規制を特定した企業にとって最も有用です。中小企業は、これらの課題に取り組むときに苦勞するかもしれません。早期に着手し、次のような質問をすることが有効です。

表2. 迅速なメカニズムの使用、2020年にFDAのCDERが承認した新薬<sup>1</sup>



<sup>1</sup>米国食品医薬品局/医薬品評価研究センター。(2021)。イノベーションを通して健康を前進させる：2020年の新薬の承認Washington, DC.[アクセス日：2021年3月30日]。  
<sup>2</sup>2020年にFDAの生物製品評価研究センター (CBER) に承認されたCAR-T細胞療法 (Tecartus) はBT合計にはカウントされていません。CBERは2020年に5つの製品を承認。



## 1. この規制メカニズムは、データにどのような付加価値を与えるか？

FDAの画期的な治療薬 (BT) 指定とEMAの優先度の高い医薬品スキーム (PRIME) は、迅速化プログラムの最上位にあります。両方とも、製品の開発計画を最適化するために、規制当局の上級職員と早期に集中的に対話することで、市場投入までの時間を短縮することを目的としています。FDAの迅速化プログラムのデータによると、BT指定を受けると、市場投入までの平均期間は3年以上短縮されます。

このような迅速で効率的な開発を可能にする方法がある一方で、参入基準が少なく、ガイダンスもそれほど厳しくないプログラムとして、FDAのファストトラック (FT) 指定や、EMAの科学的助言 (SA) プロセスなどがあります (表4)。これら

の認定は、資金調達やパートナーとの提携に加えて、中小企業や新興企業の広報活動を後押しする効果ももたらします。

バイオテクノロジー企業の場合、次の2つの重要な質問をすることで、どの迅速化メカニズムを追求すべきかを判断するのに役立ちます。1) 指定を受けることで、規制当局との情報交換、会議、関係構築が可能となり、製品の開発判断がより適切になるか？ 2) 指定により、投資家、株主、潜在的な企業のパートナー、または買い手の目に製品や技術プラットフォームの妥当性を示すことで、製品の価値が高まるか？ リソースが限られている企業にとって、資金調達に役立つ指定は貴重です。

複数の指定を受けようとする場合は、全体的な開発期間を短縮するために、それがど

のように連携して機能するかを理解することが重要です。多くの指定は、より多くの書類作業を意味します。例えば、迅速承認 (AA) では、代理エンドポイントを使用して、アンメット・メディカル・ニーズを満たすだけでなく、市販後の要件を課す医薬品の市場参入を迅速化できます。厳密には迅速化経路ではありませんが、希少疾患医薬品 (OD) のステータスは人気が高まっている規制上の戦略です。しかし、投資アナリストや潜在的なパートナーは、ODステータスを獲得するために患者集団を細分化し、承認後何年も患者登録を行わなければならない企業に懐疑的かもしれません。より広範な疾患を適応とした場合、同じように迅速な承認を得ることができますか？

## 2. 画期的な治療薬指定を獲得するチャンスはあるか？

迅速化メカニズムの聖杯とも言うべき画期的な治療薬 (BT) 指定は、中小企業の財務的状況を一夜にして変える可能性があります。初期データでは、大企業のほうが多くのBTの獲得に成功していることが示唆されますが、最近の結果では、中小企業も同様に恩恵を受けていることが示されています。

すべての医薬品がBTプログラムの対象となるわけではありません。関連する多くの面談や情報交換を処理するのに十分なリソースがない中小企業の場合、恩恵を受けるのに苦労する場合があります。また、BT指定は開発を加速する可能性があり、製造能力の迅速なスケールアップが必要になり、投資家間で製品マイルストーンを予定どお

りに達成するという期待が生まれます。

リスクはありますが、ビジネスへの影響が大きい場合、チャンスがあると考えられる企業は、開発の早い段階でBTを申請することをお勧めします。FDAはBTを承認するためには、より高い信頼性、つまり強い有効性のシグナルを望んでおり、最先端技術に取り組んでいる企業にとっては、困難な状況になるかもしれません。最初の試みでBTを取得できなかった企業は、より成熟した臨床データを待つ間、暫定的なステップとしてFTを申請するという手があります。

表3. 2020年、FDAが19の適応症で承認した17の新規抗がん剤<sup>§</sup>

商品名（一般名）/ 医薬品クラス（分子標的）	潜在的に合理化された臨床開発のためのFDAメカニズム				FDAの審査時間に影響を与える要因				FDA IND 出願日	FDA 承認日	米国で最初 に承認	FDAが承認した適応症
	ファスト トラック	希少疾患 医薬品	AA	BTD	優先審査	第一回サイ クル審査	評価援助	リアルタイムオン コロジーレビュー				
Ayvakit*（アバプリチニブ） TKI（KITとPDGFRA $\alpha$ ）	•	•		•	•				2015年06月	2020年01月	•	切除不能または転移性PDGFRA $\alpha$ エクソン18変異型消化管間質腫瘍—第1選択療法
Blenrep**（ベランタマブ・マフォドチン-blmf）(2) mAbコンジュゲート（BCMA）		•	•	•	•	•	•	•	2014年01月	2020年08月	•	再発および治療抵抗性多発性骨髄腫—第5選択治療
Danyelza**（ナキシタマブ-gqgk） mAb（GD2）		•	•	•	•	•	•	•	2017年09月	2020年11月	•	骨または骨髄の再発・難治性高リスク神経芽腫—第2選択治療
Gavreto*（プラルセチニブ）		•	•	•	•	•	•	•	2019年08月	2020年09月	•	転移性RET融合遺伝子陽性非小細胞肺癌
TKI（RET）		•	•	•	•	•	•	•	2019年08月	2020年11月	•	進行性または転移性RET遺伝子変異陽性の甲状腺髄様がん
Inqovi*（デシタピンとセダズリジン）(1) NMI/CDAI		•			•	•	•	•	2013年12月	2020年07月	•	骨髄異形成症候群（MDS）と慢性骨髄単球性白血病（CMML）
Margenza**（マルゲツキシマブ-cmkb） mAb（ERBB2）	•							•	2010	2020年12月	•	HER2陽性乳がん—第3選択治療
Monjuvi**（タファシタマブ-cxix）(2) mAb（CD19）	•	•	•	•	•	•	•	•	2010年01月	2020年07月	•	自家造血幹細胞移植の適応とならない再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）
Orgovyx*（レルゴリクス） GnRH受容体拮抗薬					•	•			2016年03月	2020年12月	(3)	進行性前立腺がん
Pemazyre*（ペミガチニブ）/ TKI（FGFR2）		•	•	•	•	•			2014年10月	2020年04月	•	FGFR2融合遺伝子を伴う進行胆管がん—第2選択治療
Qinlock*（リブレチニブ）(1) TKI（KIT/PDGFR $\alpha$ ）	•	•		•	•	•	•	•	2015年08月	2020年05月	•	消化管間質腫瘍—第4選択治療
Retevmo*（セルパーカチニブ） TKI（RET）		•	•	•	•	•			2017年03月	2020年05月	•	RET融合遺伝子陽性非小細胞肺癌とRET遺伝子変異陽性の甲状腺がん
Sarclisa**（イサツキシマブ-irfc） mAb（CD38）		•							2009年12月	2020年03月	•	多発性骨髄腫—第3選択治療
Tabrecta*（カブマチニブ） TKI（MET）		•	•	•	•	•			2012年11月	2020年05月	•	METエクソン14スキッピング変異を有する非小細胞肺癌
Tazverik*（タゼメトスタット）(2) TKI（EZH2）	•	•	•		•	•			2015年07月	2020年01月	•	切除不能な転移性または局所進行性転移性類上皮肉腫—第1選択治療
Trodelvy**（サシツズマブ・ゴビテカン-hziy）(2) mAb（Trop-2）	•		•		•	•			2012年06月	2020年04月	•	転移性トリプルネガティブ乳がん—第3選択治療
Tukysa*（ツカチニブ）(1) TKI（HER2）	•	•		•	•	•		•	2007年07月	2020年04月	•	HER2陽性乳がん—第2選択治療
Zepzelca*（レルビネクテジン）(1) 発がん性転写因子の選択的阻害薬		•	•		•	•			2008年12月	2020年06月	•	転移性小細胞肺癌—第2選択治療
合計	7	15	12	12	16	18	8	4			18	
2020年の全件数に占める割合 (%) (n=19) <sup>§</sup>	37%	79%	3%	63%	84%	95%	44%	21%			95%	

(1) 医薬品はプロジェクトOrbisの支援を受けて審査された。

(2) 画期的医薬品。

(3) レルゴリクス単剤療法（40 mg）は、子宮筋腫に関連する症状の治療薬として、2019年からレルミナのブランド名で日本で販売されている。

§ 合計には、2020年に承認された次の3つのがん造影剤は含まれない。1) Detectnet（銅Cu 64 dotatate注射液）—ソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍の位置を特定するための陽電子放射型断層撮影法（PET）の造影剤。2) ガリウム68 PSMA-11—前立腺がんの男性の前立腺特異的膜抗原（PSMA）陽性病変のPET造影剤。

3) セリアンナ（フルオロエストラジオールF 18）は、再発性/転移性乳がん患者の生検の補助としてエストロゲン受容体陽性病変を検出するためのPET撮影で使用する分子造影剤。表にはCBER承認のがん製品も含まれていません。

\*小分子。\*\*生物製剤。

医薬品クラスの略語：mAb—モノクローナル抗体。NMI/CDAI—ヌクレオシド代謝阻害剤/シチジンデアミナーゼ阻害剤。TKI—チロシンキナーゼ阻害剤。

分子標的の略語：BCMA：B細胞成熟抗原。CD19—分化抗原群19。CD38—分化抗原群38。ERBB2—赤芽球オンコジーンB。EZH2—zeste遺伝子エンハンサーホモログ2。FGFR2—線維芽細胞成長因子受容体2。GD2—細胞表面に発現するジシアロガングリオシド。HER2—ヒト上皮成長因子受容体2。KIT—v-kit/ハーディーズッカーマン4ネコ肉腫ウイルス癌遺伝子ホモログ

MET—間葉上皮転換因子。PDGFR $\alpha$ —血小板由来増殖因子 $\alpha$ 。RET—トランスフェクション時に再編成した。Trop-2—栄養黒芽細胞表面抗原2。

出典：1) U.S. Food and Drug Administration Novel Drug Approvals for 2020. 入手先：<https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/novel-drug-approvals-2020>。アクセス日：2021年2月2日。2) 米国食品医薬品局の承認済み医薬品データベース（Drugs@FDA）。アクセス先：<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/>。

アクセス日：2021年2月2日。

FDAメカニズムの略語：AA：迅速承認。BTD：画期的な治療薬指定。FT：ファストトラック承認。OD：希少疾患医薬品。PR：優先審査。プロジェクトOrbis。RTOR：リアルタイムオンコロジーレビュー。評価支援。

### 3. 迅速な薬事承認のための戦略は、今後どうなるか？

国際的な規制環境は常に流動的であり、変化に遅れないようにすることが不可欠です。例えば、有名なFDAのがん専門家Richard Pazdur氏は最近、米国では特になんに関して、重複する可能性のあるメカニズムが多すぎると考えており（表3）、同機関は迅速審査メカニズムを統合する可能性がある」と述べています。

2020年、非営利団体[Friends of Cancer Research](#)は、問題を分析し、2通のレポート「[Modernizing Expedited Development Programs](#)（迅速な開発プログラムの刷新）」と「[Optimizing the Use of Accelerated Approval](#) (AA)（迅速承認の使用の最適化）」を作成しました。前者のレポートには、FTと再生医療先端治療（RMAT）指定の申請要件を1つのプレBT経路にまとめるという提案が含まれていました。一方、後者のレポートでは、FDAがAAを撤回する柔軟性を高め、プログラムをEMAの条件付

き販売許可（CMA）に近づけることを推奨しています。[2021年4月27日に開催されたODAC会議](#)では、AAを取得したものの、市販後の確認試験で有効性を実証できなかったいくつかの抗がん剤が検討されました。AAを使用している企業は、このような変更の潜在的な影響について考える必要があります。

FDAは迅速審査を合理化する可能性があります。2022年のFDAユーザーフィー法（[PDUFA VII](#)）や、[21世紀の治療法の潜在的な改正法](#)など、この取り組みのために役立つ法案がいくつか出てきています。

商業的成功の確率を最大限に高めるには、開発を合理化できるメカニズム、またはメカニズムの組み合わせを選ぶことが重要です。それが新しい治療法を必要としている患者さんに届けるための、最も確実な方法です。

表4. FDAとEMAの規制指定の比較

FDA	EMA
<p>画期的な治療薬（BT）指定</p> <p>集中的な早期の対話、開発中の定期的な面談、ローリングサブミッション、レビュー。</p>	<p>優先度の高い医薬品スキーム（PRIME）</p> <p>集中的な早期対話、開発中の定期的な面談。EMAの迅速評価の可能性により、審査期間を210日から150日に短縮できます。（2021年2月、EMAはPRIME医薬品開発企業がモジュール3データ品質パッケージを提出することを支援するための「<a href="#">ドラフトのツールボックスガイダンス</a>」を公開しました）。</p>
<p>再生医療先端治療（RMAT）</p> <p>BTのすべての機能（CGT、治療用組織工学製品、またはその組み合わせを除く）。</p>	<p>条件付き製造販売承認（CMA）</p> <p>好ましいベネフィット/リスクプロファイルが確立。より包括的なデータが必要。試験依頼者は毎年CMAステータスを更新する必要があります（<a href="#">2006年から2016年では</a>、CMAは平均で4年以内にMAIに変換されました）。</p>
<p>ファストトラック（FT）指定</p> <p>早期の対話、ローリングサブミッション、レビュー。</p>	<p>迅速審査</p> <p>EMAはMAAを150日（標準では210日）以内に審査します。</p>
<p>迅速承認（AA）</p> <p>代理エンドポイントに基づいた有効性。確認のための試験が必要。データがベネフィットを確認できない場合を除き、製品の販売は続けられます（ある研究では、市販後調査で生存期間のベネフィットを確認できたAA抗がん剤はわずか20%でした）。</p>	<p>例外的な状況での承認</p> <p>希少疾患や倫理的な懸念により、包括的な安全性や有効性のパッケージは不可能です。</p>
<p>優先審査（PR）</p> <p>FDAはNDA/BLAを6か月（標準では10か月）以内に審査します。</p>	<p>希少疾患医薬品</p> <p>7年間の販売独占権。NDA/BLA料金の免除（<a href="#">2021年は290万ドル</a>）。FDAの研究助成金を獲得できる可能性。プロトコル支援。承認された場合、米国を拠点とする臨床試験費用の最大50%の税額控除が適用。</p>
	<p>希少疾患医薬品</p> <p>10年間の販売独占権。<a href="#">中小企業</a>はMAA料金免除（<a href="#">296,500ユーロ</a>から）。EMAの研究助成金を獲得できる可能性。プロトコル支援。</p>

表4の略語の説明：  
BLA：生物製剤認可申請。CGT：細胞および遺伝子治療。MA：完全な販売承認。MAA：製造販売承認申請。NDA：新薬申請。SME：中小企業（[EMAの定義](#)）。

# 創薬の成功は 患者さんから始まる

バイオテック企業が  
どのように試験をデザインし  
よくある障害を克服するのかを  
患者イノベーションセンターの  
専門家に聞きました

Kristina Reeder

アソシエイトディレクター、患者イノベーションセンター

Loren Caldwell

患者募集マネージャー

## 多くのバイオテクノロジー企業は 患者さんのすぐ近くにいます

単一の治療分野に特化した中小・新興企業であるバイオテクノロジー企業は、通常、患者さんに近い存在です。例えば、創業者や主要投資家が対象疾患と個人的、または家族的なつながりを持っている場合、研究に感情的な要因をもたらすでしょう。

これは有利に働く可能性もありますが、誤った安心感を与えてしまう可能性もあります。そのような企業は、「当社は100%患者さんを中心に考えているので、患者中心主義について心配する必要はない」と考えるかもしれませんが、しかし、患者さんの経験や医療ニーズについて熟知しているバイオテクノロジー企業であっても、臨床開発計画が患者さん中心であることを保証するためには、さまざまなステークホルダーと早期に連携するなど、多くのことを行わなければなりません。

## プロトコルデザインでは、 どのような課題がありますか？

私たちがよく目にする問題は、必要以上に多くの評価や手続きが行われている臨床試験です。例えば弊社は最近、疫学者チームやその他の専門家が評価スケジュールを検討した結果、バイオテクノロジー企業がプロトコルを改定することを支援しました。臨床試験のための来院で気管支鏡検査や心臓カテーテル処置などの侵襲的処置が含まれる場合は、できるだけ少ない回数で実施したいものです。今回のケースでは、当初のプロトコルでは、月に1回の侵襲的処置を6ヵ月連続で行うことになっていました。しかし、変化は徐々に起こるため、毎月のデータは有益ではなく、頻度を6ヵ月に1回に減らすことができました。

技術的に侵襲性がなく、適切な条件のもとで自宅で実施される6分間の歩行テストでさえ、多すぎると患者さんは疲弊してしまいます。患者さんの時間とエネルギーも限られたリソースです。

企業は念のため、できるだけ多くのエンドポイントのデータを収集しなければならないと考えることがあります。しかし、念のためのエンドポイントが多いプロトコルは、患者さんを遠ざけ、登録を遅らせ、脱落率を高めます。効率的な臨床プロトコルは、戦略をサポートするのに十分なエンドポイントを備えています。多すぎるとはいけません。最適なデザインに含まれるものは：

- ▶ 限定された数の主要エンドポイント
- ▶ 密接で、関連性の高い副次エンドポイントのサブセット
- ▶ 患者さんの正確な報告によるアウトカム（PRO）

何を何のために収集するのか、明確でなければなりません。

## 分散型臨床試験は どのように役立ちますか？

新型コロナウイルスによるパンデミックにより、分散型臨床試験（DCT）という新しい分野が、わずか数ヵ月のうちに臨床研究の最前線に躍り出ました。訪問介護、遠隔医療、患者さんへの直接の医薬品の発送、モバイルセンサーなどを活用することで、DCTは特に遠方に住んでいた、病気で移動できなかつたり、多忙な患者さんが臨床試験に参加しやすくなります。

患者さんは対話のたびに施設へ出向く必要がないため、患者中心の試験を行うことができ、患者さんの負担を軽減します。臨床試験の計画者たちは、患者さんにとって何が最も効果的かを会議で理論的に説明することがありますが、それは患者さん自身が知っていることです。その知識を計画に生かすためには、患者さん、介護者、施設と話し合い、患者さんが何を必要としているのか、実際のフィードバックを求める必要があります。

## 多様な背景を持つ患者さんを 登録するには？

影響を受ける集団を反映した患者さんを臨床試験に含め、登録することが重要です。臨床試験における包括性と多様性の実現は、業界全体の課題であり、企業、施設、研究者は、患者さんが参加しやすくなる方法を模索する必要があります。

国ごとに患者中心主義がどのように異なるのか考察してみましょう。米国で機能するものは、フランスでは機能しない可能性があり、フランスで機能するものは、スペインでは機能しない可能性があります。患者さんの近くに施設がない臨床試験では、登録目標を達成することに苦労するため、企業はこれらの違いを調査する必要があります。

企業は訪問調査や、高齢者とその介護者、幼児とその両親など、さまざまな集団への対応に精通した看護師に助言を求めることができます。また地域に基づいて、臨床試験の資料を複数の言語に翻訳することも可能です。最近、私たちが臨床試験看護師から聞いた事例としては、臨床試験文書がカリフォルニア州のある地域で普及していた北京語に翻訳されていなかったために、施設が希少がんの患者さんを登録する機会を逃してしまったという話を聞きました。米国での翻訳は、スペイン語以外にも拡張すべきです。例えば、あるニューヨーク市の行政区では、住人が話す第一言語はクレオール語やロシア語など、9種類にも及びます。

民族的に多様なスタッフを雇用している施設は、より多様な患者集団をより適切に登録することができます。私たちは患者さんから、彼らのようなスタッフを希望すると繰り返し聞いています。

**「念のためのエンドポイントが多いプロトコルは、患者さんを遠ざけ、登録を遅らせ、脱落率を高めます。何を何のために収集するのか、明確でなければなりません。」**



# 小さな会社ほど、 迅速に「中止」 することが重要

Skip Sands, MD  
SVP、シニアメディカルオフィサー、アメリカ

医薬品開発は難しいビジネスです。第I相試験から市販までこぎつけた製品候補は8%未満であると報告されています。

リスクを軽減するための効果的な方法の1つは、弱くて平均的な製品候補を中止し、成功の可能性が最も高い主要製品や後続製品にリソースを集中させることです。これには苦しみがありますが、中小・新興企業は開発中のできるだけ早い段階で、平凡な資産を一時停止または終了させ、ポートフォリオの優先順位を変える必要があります。

すでに臨床試験に1,000万ドルと10ヵ月を費やした後、警告シグナルが明確な場合には、更に2,000万ドルと18ヵ月を費やすまで、プログラムを止めるのを待つ必要はありません。会社の規模が小さいうちは、リソースを守るために常に気を配る必要があります。ここではそのための3つの戦略をご紹介します。

## 包括的な前臨床 プログラムへの投資

前臨床試験をしっかりと検証しましょう。たとえ優秀な社内のチームを雇ったとしても、外部の専門家に依頼して、前臨床データプログラムの分析を行い、そのギャップを埋めてください。投資家や資産を探している企業は、同様のことを行うので、冷酷なまでの客観性を持って、前臨床試験を評価してください。

前臨床の精査に投資した資金は、自社で開発するにせよ、パートナーと提携するにせよ、売却するにせよ、貴社の資産価値を高めることとなります。毒性研究を遅らせてはいけません。早く終わることが理想的です。理学的モデリングや患者さんのシミュレーションを行いましょう。経験豊富な投資家や潜在的な買い手は、質の高いプログラムの特徴として、このような追加的なステップを求めます。

数値を計算するためのツールや方法は、10年前よりも現在のほうが進んでおり、企業はより大きな自信と成功をもって結果を予測することができます。ヒトの反応を予測する動物モデルを選び、有益な効果に対する積極的な目標を設定することで、実質的な反応を誘発する可能性の高い製品候補を特定することに役立ちます。

前臨床の結果が優れた製品であることを示していない場合は、最適ではない資産を早期に終了し、より良いものに投資するという貴重な機会を得ることができます。

## アンメット・ニーズの 早期定量化

新薬の市場を理解するには、文献を検索し、詳細な競合分析の準備、患者支援団体（PAG）への聞き取りなどが必要です。PAGは商業的可能性を理解しており、他の方法では得られないユニークな洞察を得ることができます。

データを調べましょう。例えば、患者さんの40%が現在の標準治療（SOC）に反応しない固形がんをターゲットにしている場合、その40%の患者さんを特定し、特徴を明らかにします。潜在的な収益を見極めましょう。その40%の領域で、貴社の製品は投資収益を上げることができますか？

規律正しく、熱心に市場を研究すれば、企業は優位に立つことができます。例えば自然史研究や観察研究も、後の段階の臨床試験ではなく、前臨床開発の段階で計画し、開始します。





## 革新的な臨床試験デザインの使用によって成功を導きます

アダプティブ試験やマスタープロトコル（バスケット、アンブレラ、およびプラットフォーム試験など）は、何年も前から話題になっています。そのほとんどが、[がん領域での導入ですが](#)、このような柔軟で革新的なデザインは、他の治療分野での試験をより効率的にし、バイオテクノロジー企業の戦略的な意思決定に役立つ可能性があります。

探索的な第II相バスケット試験では、同じ遺伝子異常や経路によって引き起こされる複数の疾患を持つ患者さんを対象に、候補製品または製品の組み合わせを試験することができます。統合されたプロトコルにより、各群を独立して登録し、安全性データを蓄えることができます。有効性シグナルを確認後、効果が弱いと思われる試験群を中止または一時停止し、薬剤の効果が最も高い条件にリソースを集中させることができます。このような試験の変更は、バスケット試験の設計に組み込まれているため、臨床試験の遅延の主な原因であるプロトコル改定を必要としません。ある分野が有望であるにもかかわらず、登録が遅れている場合、他の分野で確実な足場を築くまで、その適応症を保留することができます。

第III相開発で開発中の製品を中止することは、ポートフォリオを整理する上で最もコストのかかる方法ですが、[第III相試験の42%が失敗に終わっています](#)。それはバイオテクノロジー企業にとっては大きな無駄です。資産や適応症を第II相と第III相の間で消去することで、開発コストを大幅に節約し、企業はより効果的で商業的に実現可能な製品に資金を振り向けることができます。

# 製品を成功に 導くための バリューストーリー の作成

Holger Müller, Ph.D.  
VP, Health Advances

Kelly Cockerill  
ディレクター、Health Advances

バイオテクノロジー企業は、しばしば中核となるようなエキサイティングな科学を有しています。革新的な作用機構、遺伝子編集ツール、またはプラットフォームテクノロジーを中心に企業文化が形成されている場合もあります。しかし、優れた科学を償還可能で商業的にも競争力のある製品に変換することは、さまざまな分野での課題でもあります。開発の初期段階から一貫した製品価値のストーリーを明確化することで、企業は投資家からの資金調達、より賢明な開発の意思決定、市場シェアを獲得、そして償還を勝ち取ることができます。



最近の調査によると、製品が商業的に失敗するのは、アンメット・メディカル・ニーズの理解が不十分であることと、競合他者との差別化ができていないことが理由として挙げられます。いずれの問題も、製品のバリューストーリーに大きな穴を開けてしまいます。しかし、中小企業も大企業も、次の3つの戦略により、不十分なバリューストーリーのリスクを軽減することができます。

## 1. 製品価値提案を負荷テストする

説得力のあるバリューストーリーを構築するだけでなく、開発期間中に定期的に負荷テストを行うことも重要です。

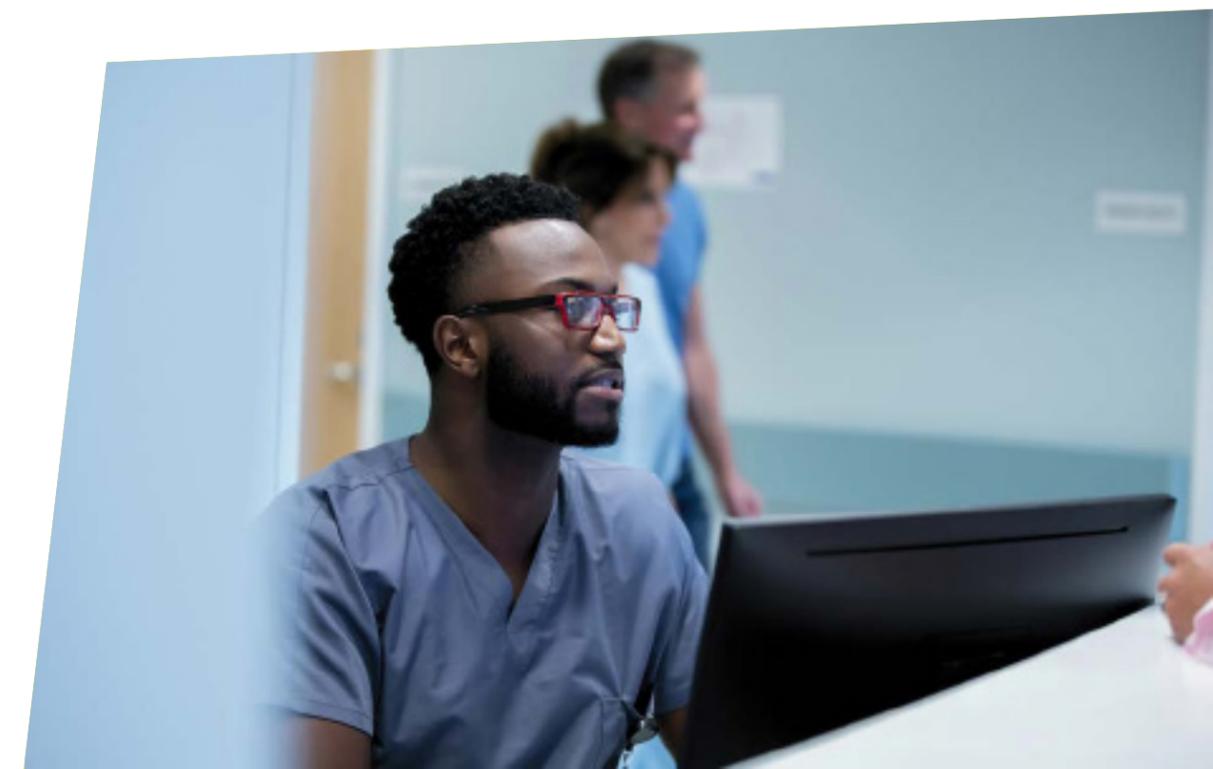
企業はグローバルな規制当局、保険者、HTA機関など、外部のすべてのステークホルダーからの精査に耐えうるバリューストーリーを作る必要があります。自社やその技術とは独立した専門家に意見を求めることで、製品の価値提案を早期から何度も検証してください。一度や二度の検証ではなく、開発中は継続的に検証しましょう。このようなフィードバックを得るために、コストをかける必要はありません。例えば、小規模な企業であれば、臨床研究に専念している治験責任医師だけでなく、実際に診察を行っている医師に会い、ある症状に対する治療のギャップを探ることで、貴重な洞察を得ることができます。

アンメット・ニーズに対応し、巨大な肥満症市場の一部を獲得できると考えているのであれば、最も恩恵を受ける可能性の高いターゲット患者群を正確に定義する必要があります。肥満症患者の層別化はできていますか？疾患進行のどの段階で、治療のパラダイムに入りますか？胃の手術などの代替手段と比べて、価格はどうですか？

保険は適用されますか？価値提案では保険償還とアクセスを優先してください。

患者支援団体や患者さん（臨床試験の参加者に限定されません）に相談することで、企業は例えば、副作用の軽減や、より便利な投与経路で、SOCを改善する方法を理解することができます。企業はHTA機関、公的医療保険者、民間保険会社の代表と会うこともできます。多くの国のHTA機関は、中小企業や、希少疾患医薬品開発を行っている企業を対象に、安価または無料で相談を行っています。

*「自社やその技術とは独立した専門家に意見を求めることで、製品の価値提案を早期から何度も検証する」*



## 2. 早期に商業的検討を行う

早期に商業計画は、投資や収益への明確な道筋を示し、不必要な遅延を回避することで、製品を成功へ導くことができます。

多くの中小・新興企業は、規制当局の承認が得られるまで、専任のCCO（最高商務責任者）または同様の役割を採用するのを待っています。

その結果、多くのバイオテクノロジー企業には、価値やアクセスに早期に対応できる体制が整っていません。

経済的な解決策の1つは、世界中から入手可能な商業情報を探し出すことです。専任者を増やすのではなく、この仕事をコンサルタントに依頼することもできます。Parexel Biotechをはじめとする組織は以下のことをお手伝いできます。

- ▶ 規制当局やHTA機関の過去の決定を通して、彼らが期待するものを理解する
- ▶ アンメット・ニーズとそれに対する製品の対応を検証し、患者さんをケアする詳細な経路を構築する
- ▶ 新規の治療法や希少性の高い疾患療法に関連する保険償還コードが存在するかなどの状況を調査する

商業的な検討を促進するためのプロセスを組み込みましょう。商業化を成功させることを企業理念の一部とし、それが言葉だけではなく、コミットメントであることを明確にすることが大切です。ほんの数分であっても、すべての会議の議題にしましょう。また研修にも含めることで、企業理念の一部であることを社員全員が認識するようになります。

「部門間を超えた意思決定により、HTA機関の審査官や保険者が望むデータや試験結果に裏付けられた価値提案を行い、製品の価値を反映した価格を導き出し、競合他社から市場シェアを獲得することができます」

### 3. 重要な意思決定には 複数の専門分野を関与させる

科学、臨床、規制、商業的な検討事項を最初から統合し、開発の意思決定をより適切にサポートしましょう。

HTA機関や保険者が、製品の価値提案を裏付けるために具体的なアウトカムまたは生活の質（QOL）データを要求する場合には、規制に関係するこれらのデータを収集する試験をデザインする必要があります。そのため、すべての分野が意思決定に参加する必要があります。

部門を超えた意思決定により、HTA機関の審査官や保険者が望むデータや試験結果に裏付けられた価値提案を行い、製品の価値を反映した価格を導き出し、競合他社から市場シェアを獲得することができます。さらに承認されたラベルに新しい適応症を追加したり、新しい国で承認を得たり、必要に応じた提携するなど、製品ライフサイクルを効果的に管理することも可能になります。

統合された開発により、収益化までの時間は短縮されます。アンメット・ニーズにターゲットを絞り、最適な臨床試験デザインを行うことで、規制当局の承認や償還の遅延が少なくなります。データに基づく、十分に調べられた価値提案は、投資家の信頼と信用を築き、資金調達を容易にします。



統合された開発は、資産の取得やターゲットの特定の時点で開始する必要があります。統合された開発を実現するためには、社内の人材と経験をうまく組み合わせ、不足分は外部の協力を得て補うようにしましょう。

商業的に成功する医薬品を開発するための万能のモデルはありませんが、スタートアップ企業がしばしば陥りがちな致命的なミス回避することは可能です。社内外の関連する視点や専門知識を統合し、商業的リスクを真剣に考慮することで、中小企業でも成功の可能性を高めることができます。

# 寄稿者



**Jim Anthony**  
EVP、グローバル責任者  
Parexel Biotech  
[Jimとのコンタクト](#) ▶



**Sangeeta Budhia, Ph.D.**  
グローバルHTA戦略リード兼VP、  
価格設定と市場アクセス  
[Sangeetaとのコンタクト](#) ▶



**Loren Caldwell**  
患者募集マネージャー  
[Lorenとのコンタクト](#) ▶



**Kelly Cockerill**  
ディレクター Health Advances  
[Kellyとのコンタクト](#) ▶



**Mark Mathieu**  
戦略研究ディレクター  
[Markとのコンタクト](#) ▶



**Bridget Heelan, M.B., D.Phil.**  
VP、規制コンサルティング  
[Bridgetとのコンタクト](#) ▶



**Holger Müller, Ph.D.**  
バイスプレジデント Health  
Advances  
[Holgerとのコンタクト](#) ▶



**Kristina Reeder**  
アソシエイトディレクター、  
患者イノベーションセンター  
[Kristinaとのコンタクト](#) ▶



**Skip Sands, MD**  
SVP、シニアメディカルオ  
フィサー、米国  
[Skipとのコンタクト](#) ▶



**Steve Winitsky, MD**  
VP、規制コンサルティング  
[Steveとのコンタクト](#) ▶

# 素早く敏捷に 誰もが結果を出すための 臨床戦略と薬事戦略の統合

*With Heart*<sup>TM</sup>

急速に成長するバイオテクノロジー環境に対応するためには、開発上の課題を事前に予測し、適応するための専門知識が必要です。Parexel Biotechはお客様が開発目標を達成するために必要な経験とガイダンスを、あらゆる段階で提供します。どのようなプロジェクトであっても、Parexel Biotechは最初から完全に統合された適応可能なデリバリーモデルを用いて、患者さんを最優先することを支援します。Parexel Biotechのチームは、臨床開発のすべてのプロセスに沿ったすべての決断、タッチポイント、マイルストーンを段階的に説明し、重要な最終目標である、イノベーションを研究室から最も必要としている患者さんに、より早く届けることができるよう支援します。

バイオテクノロジーを止めないために必要な柔軟性と適応性を手に入れましょう。 >