CRDS 研究開発戦略センター
Center for Research and Development Strategy

国立研究開発法人科学技術振興機構

大学見本市 2024 Innovation Japan
JST研究開発戦略センターセミナー

テクノロジー、サステナビリティ、Well-beingの交差点
～イノベーションの動向を掴む～

「創薬に関する研究開発動向と今後の展望」

2024年8月23日

JST研究開発戦略センター（CRDS）
ライフサイエンス・臨床医学ユニット
辻 真博

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

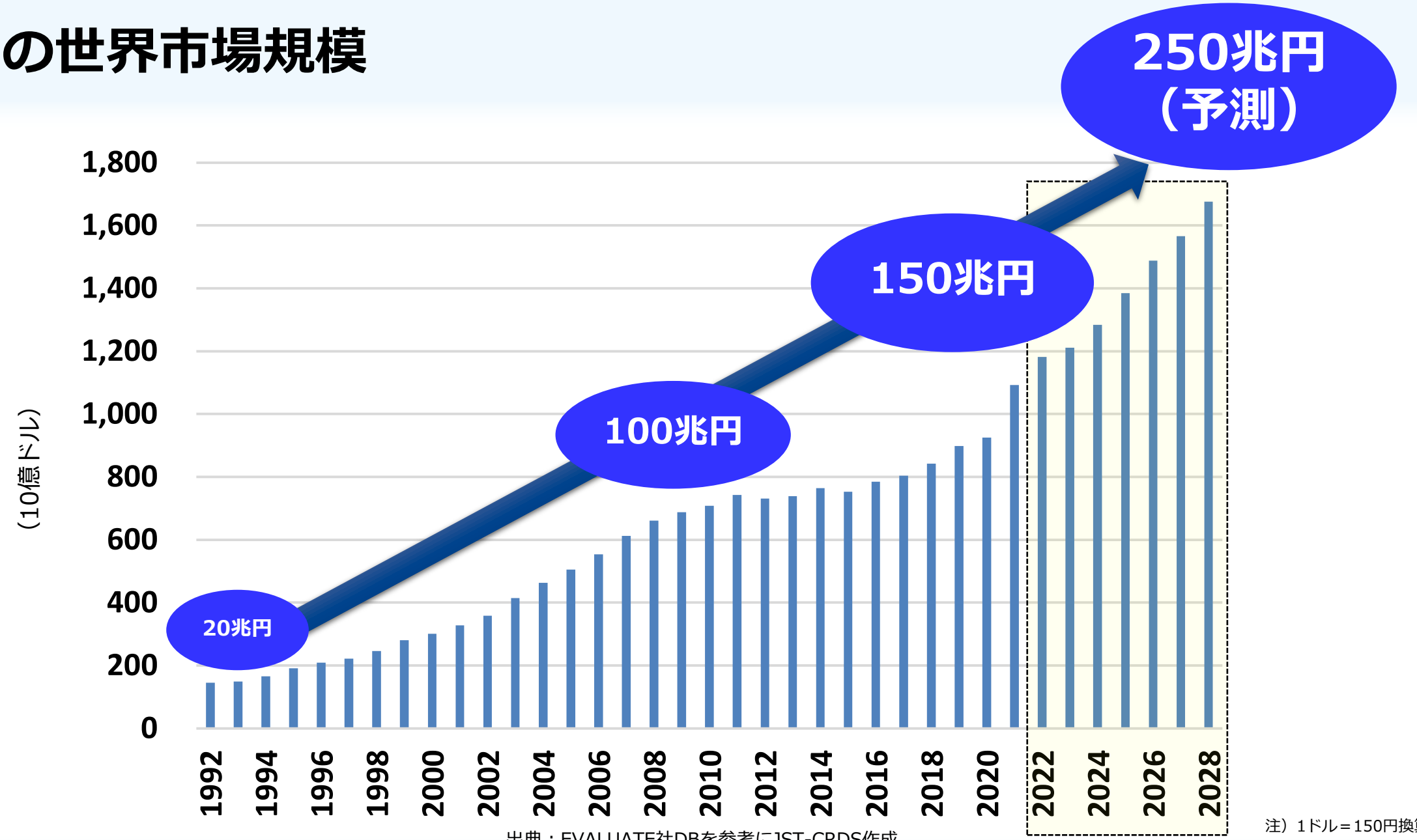
©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観
０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向
０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ
０４．創薬のエコシステムの概観
０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性
０６．まとめ

©2024 CRDS

医薬品の世界市場規模



出典：EVALUATE社DBを参考にJST-CRDS作成

注）1ドル＝150円換算

2022年以降は推測値

©2024 CRDS

創薬：わが国がやるべき事は山積み！

1）新たな治療標的の開拓

①生命科学研究の推進
- 1）生命原理の探求、生命現象の解明
  →ゲノム、RNA、代謝、恒常性、老化、免疫、神経、臓器連関ほか

②基礎医学研究の推進、疾患メカニズムの解明
- 1）疾患の深掘り研究、疾患横断的研究
  →がん、認知症、神経変性、精神、感染症、感覚器、筋骨格、代謝、自己免疫、生活習慣病、希少疾患ほか
- 2）”進化医学”：多様な動物種の疾患耐性&脆弱性の比較生物医学

③Human Biology／ヒト疾患研究、治療標的の同定＆妥当性検証
- 1）ヒトを対象とした研究を通じた新規治療標的の同定
  →ヒトサンプル、ゲノム・医療データ、リバースTR、種差横断
- 2）治療標的としての妥当性評価（target validation）

④AI／データ駆動型のバイオロジー／疾患研究へ
- 1）WET研究とAI／ビッグデータ研究の融合加速
- 2）疾患メカニズムの掘り下げ、治療標的探索
  →ゲノム/オミクス × 疾患 × 医療データ

2）次世代モダリティ技術の開発/洗練

①創薬モダリティの洗練、新規開拓
- 1）多様なモダリティの次世代技術の開発、洗練、融合
  →低分子医薬、 タンパク/ペプチド医薬、抗体医薬、核酸医薬、*in vivo/ex vivo*遺伝子治療、mRNAワクチン、細胞治療[再生医療]
- 2）新規モダリティ概念の開拓
  →ウイルス製剤治療、細菌製剤治療、放射性核種、EV、治療アプリ

②創薬基盤技術の開発
- 1）次世代送達技術（時空間制御、病態特異的、デバイスなど）
- 2）ヒト代替評価系（MPS、オルガノイド、ヒト化動物、サル）
- 3）GMP製造技術（治験薬の迅速供給、ベクター／核酸など）

③AI／データ駆動型の創薬、診断、医療提供
- 1）AI／*in silico*創薬（標的探索、分子細胞設計、評価予測）
- 2）AI診断（医療機器プログラムなど）、診断支援AI

④個別化・層別化診断技術の開発（診断と治療の複合化へ）
- 1）疾患バイオマーカー（分子/細胞/画像など）、ゲノム医療（がん）
- 2）デジタルバイオマーカー（ウェアラブルデバイス、スマホなど）

3）創薬エコシステム／創薬を巡る環境整備

①有望な開発候補品創製を加速する研究環境の構築
- 1）有望な開発候補品創製に向けたハンズオンの支援体制構築
- 2）最先端モダリティ技術基盤の構築（治療アイデアの具現化へ）
- 3）臨床試験の環境整備（First in Human、国際共同治験など）

②スタートアップ環境整備、成功事例の創出
- 1）スタートアップ関連の人材育成（教育、人材流動性など）
- 2）真に有望なスタートアップに限定した重点支援で成功事例創出

③生産・製造体制の構築
- 1）GMP製造基盤の構築（ベクター／核酸など）
- 2）Quality by Design

④市場原理では進みづらい創薬モダリティ領域の制度設計
- 1）N-of-1（アンチセンス核酸など）
- 2）抗菌薬/ワクチン（Push-Pull型のインセンティブ設計）

⑤医療費の最適化へ
- 1）医療技術評価（HTA）と適切な社会実装
- 2）医療提供の最適化[疾病管理、服薬コンプライアンス、ICT技術の活用]

⑥安全保障の観点[医療/経済]
- 1）国産モダリティ技術基盤の構築（mRNAワクチンほか）
- 2）国内製造基盤、CDMO/CMOの整備
- 3）日本人の健康・医療データ基盤の構築

©2024 CRDS

創薬：わが国がやるべき事は山積み！

柱①

病気の原因を解明する

例：認知症になる原因物質を探し出す！

柱②

病気の原因を制御する医薬品を開発

例：認知症の原因物質を除去できる医薬品をデザイン！

柱③

研究開発環境を整備

（体制・資金・人材・ルール）

©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

©2024 CRDS

用語説明

- ✓ モダリティ
- ✓ **創薬モダリティ**
- ✓ 医薬モダリティ

＝医薬品のタイプ、種類

- 2010年頃～
- 製薬企業＆官公庁＆アカデミアで頻用
- 恐らく、日本独自の呼称

©2024 CRDS

創薬モダリティの分類（私見）

✓ 新旧様々な創薬モダリティを14種類に分類し、分析を試みた

大分類	
治療	①低分子医薬
	②タンパク/ペプチド医薬
	③核酸医薬
	④mRNA医薬
	⑤抗体医薬
	⑥*in vivo*遺伝子治療
	⑦*ex vivo*遺伝子治療

大分類	
治療	⑧細胞治療[再生医療]
	⑨ウイルス製剤治療
	⑩細菌製剤治療
	⑪その他分子等治療
	⑫治療アプリ
予防	⑬ワクチン（mRNA以外）
	⑭mRNAワクチン

©2024 CRDS

本調査における創薬モダリティの詳細分類

治療
予防

赤字：巨大市場を形成
青字：製品事例有り（市場未成熟）
緑字：基礎研究or臨床開発段階

大分類	中分類
①低分子医薬	低分子化合物
	天然化合物
	特殊化合物（キメラ化合物など）
②タンパク/ペプチド医薬	生理活性タンパク・ペプチド
	タンパク・ペプチドコンジュゲート
	融合タンパク・ペプチド？
	人工構造ペプチド（人工アミノ酸, 特殊環状など）
③核酸医薬	アンチセンス核酸
	siRNA
	核酸アプタマー
	核酸アジュバント、デコイ核酸
	miRNA(-mimic)
	その他（RNA編集、ゲノム編集、tRNA治療）
④mRNA医薬	mRNA [タンパク欠損症,がん,生活習慣病]
	人工構造mRNA（naked、環状）
	人工構造DNA
⑤抗体医薬	モノクローナル抗体
	抗体コンジュゲート（ADCなど）
	多重特異性抗体
	低分子抗体（Fab, scFv, VHHなど）
	免疫グロブリン製剤、抗体カクテル
	機能性抗体（病態特異的結合など）
⑥*in vivo* 遺伝子治療	ウイルスベクター（AAV）
	ウイルスベクター（AAV以外）
	非ウイルスベクター（VLP, LNP, pDNAなど）
	ゲノム編集技術との複合化

大分類	中分類
⑦*ex vivo* 遺伝子治療	造血幹細胞
	免疫細胞（CAR-T）
	免疫細胞（CAR-T以外）
	組織幹細胞
	iPS由来細胞
	人工細胞
⑧細胞治療 [再生医療]	造血幹細胞（骨髄移植など）
	2D培養組織（皮膚など）
	組織幹細胞・体細胞（軟骨など）
	間葉系幹細胞
	ES/iPS由来細胞
	免疫細胞（T細胞, NK細胞など）
	*3D*培養臓器
	異種移植/胚盤胞置換法（ブタなど）
⑨ウイルス製剤治療	腫瘍溶解ウイルス（ヘルペス,ワクシニアなど）
	バクテリオファージ（天然or組換え）
⑩細菌製剤治療	マイクロバイオーム（FMT, 細菌カクテルなど）
	遺伝子改変細菌
⑪その他分子等治療	α線/β線核種
	ホウ素薬剤（BNCT）
	EV/エクソソーム（天然, 人工）
⑫治療アプリ	疾病管理／行動変容アプリ
	脳刺激治療アプリ（ゲームなど）
⑬ワクチン（mRNA以外）	病原体（弱毒化, 不活化）
	病原体由来分子（コンジュゲート,組換え,VLP,トキソイド,ポリサッカライド、サブユニット）
	アデノウイルスベクターワクチン
⑭mRNAワクチン	mRNAワクチン [感染症]
	DNAワクチン

©2024 CRDS

本調査における創薬モダリティの詳細分類

治療
予防

赤字：巨大市場を形成
青字：製品事例有り（市場未成熟）
緑字：基礎研究or臨床開発段階

大分類	中分類
①低分子医薬	低分子化合物
	天然化合物
	特殊化合物（キメラ化合物など）
②タンパク・ペプチド	
③核酸医薬	
④mRNA	
⑤抗体医薬	
⑥*in vivo* 遺伝子治療	ウイルスベクター（AAV）
	ウイルスベクター（AAV以外）
	非ウイルスベクター（VLP, LNP, pDNAなど）
	ゲノム編集技術との複合化

大分類	中分類
⑦*ex vivo*	造血幹細胞
	免疫細胞（CAR-T）
	免疫細胞（CAR-T以外）
	など）
	ルなど）
⑬ワクチン（mRNA以外）	病原体（弱毒化, 不活化）
	病原体由来分子（コンジュゲート,組換え,VLP,トキソイド,ポリサッカライド、サブユニット）
	アデノウイルスベクターワクチン
⑭mRNAワクチン	mRNAワクチン [感染症]
	DNAワクチン

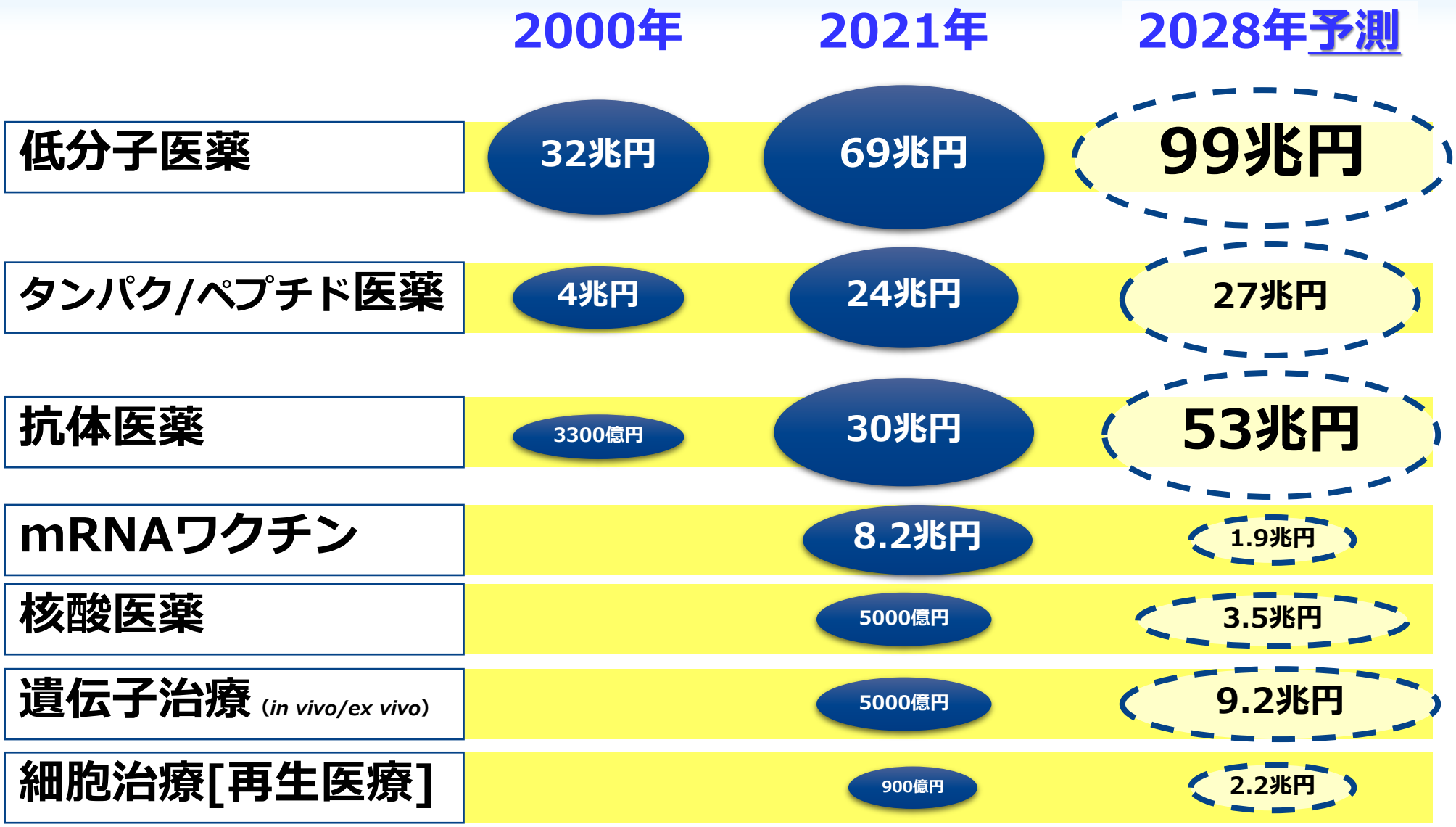
★より詳細に分類できる
大分類：14種類
中分類：53種類、、、もっとある！？

★1つ1つの創薬モダリティで、問題点は異なる

★「わが国がなすべきこと」を考えるには、
高い解像度での調査・分析が必要！

©2024 CRDS

世界市場の推移と予測



注）1ドル＝150円換算

©2024 CRDS

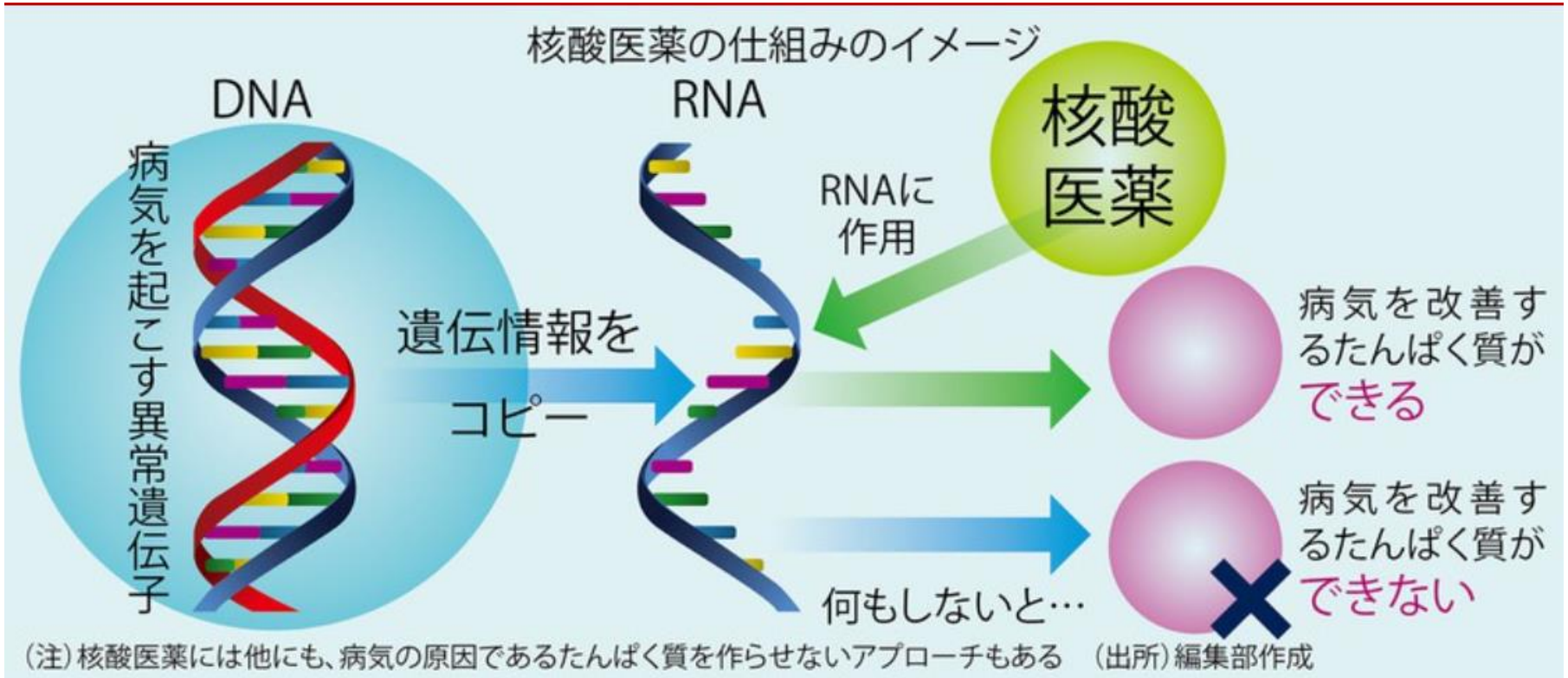
世界市場の推移と予測

注）1ドル＝150円換算

©2024 CRDS

「核酸医薬」

DNAやRNAに結合して治療する

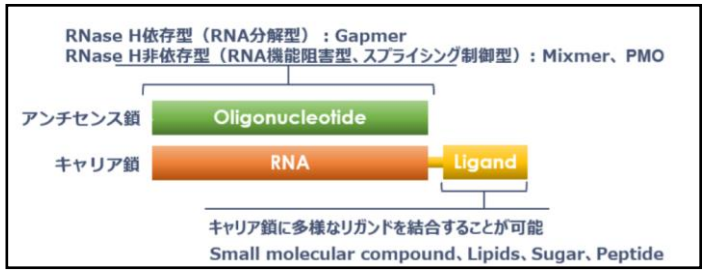


週刊エコノミストonlineより画像転載
https://weekly-economist.mainichi.jp/articles/20201020/se1/00m/020/050000c

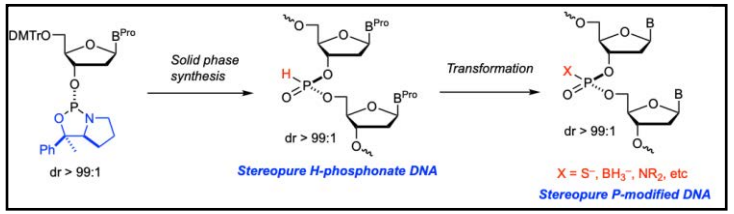
©2024 CRDS

「核酸医薬」

人工核酸骨格
「ヘテロ核酸」

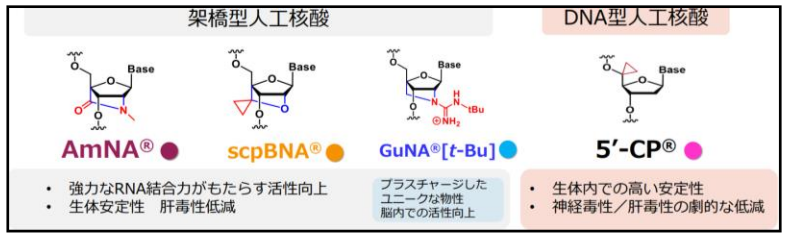


合成・製造技術
「キラリティ制御合成」



https://www.chem-station.com/chemist-db/2021/12/takeshi-wada.html

核酸修飾技術
「AmNA®, GuNA®ほか」



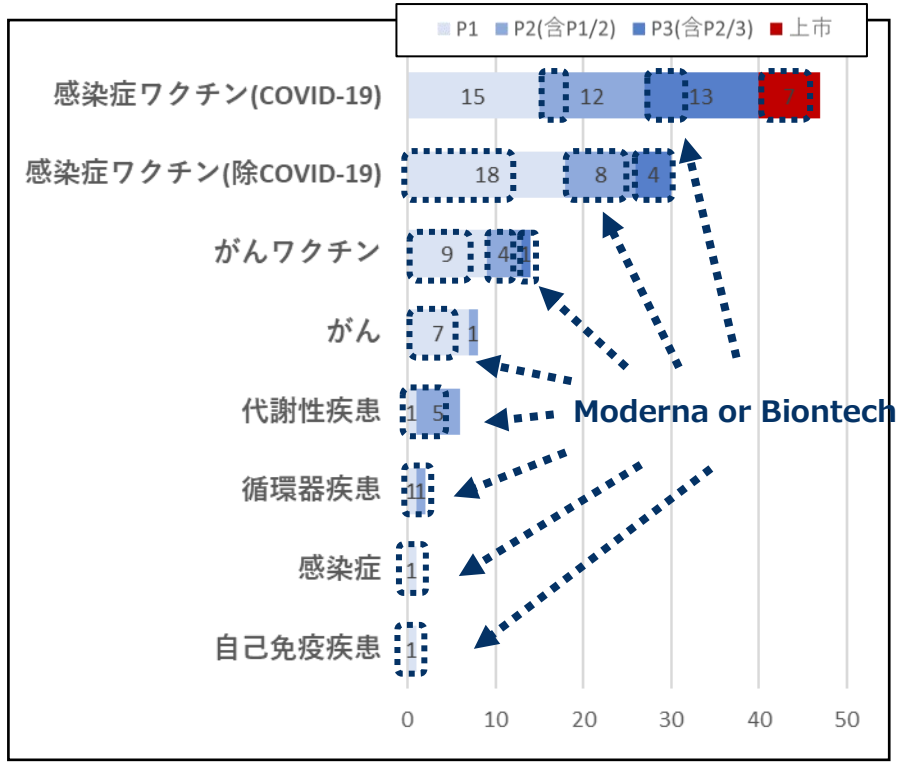
国産製品登場
「viltolarsen®（筋ジストロフィー）」

https://www.clinicaltrialsarena.com/projects/viltepso-viltolarsen/

©2024 CRDS

「mRNAワクチン」

✓ 新型コロナワクチンとして突如登場し、5兆円を超える市場を形成
✓ 今後はどうなる？？？



2023年6月時点

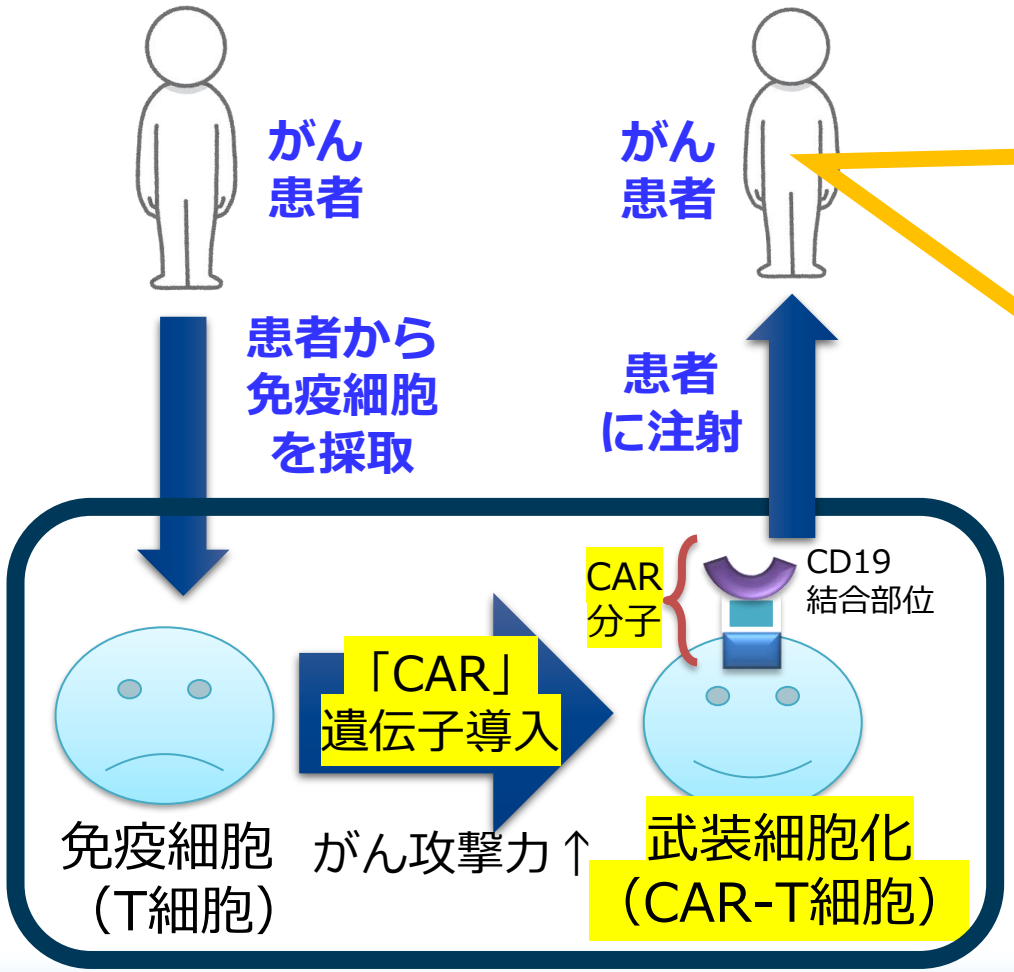
Moderna社、Biontech社が、
新型コロナ以外にも展開中

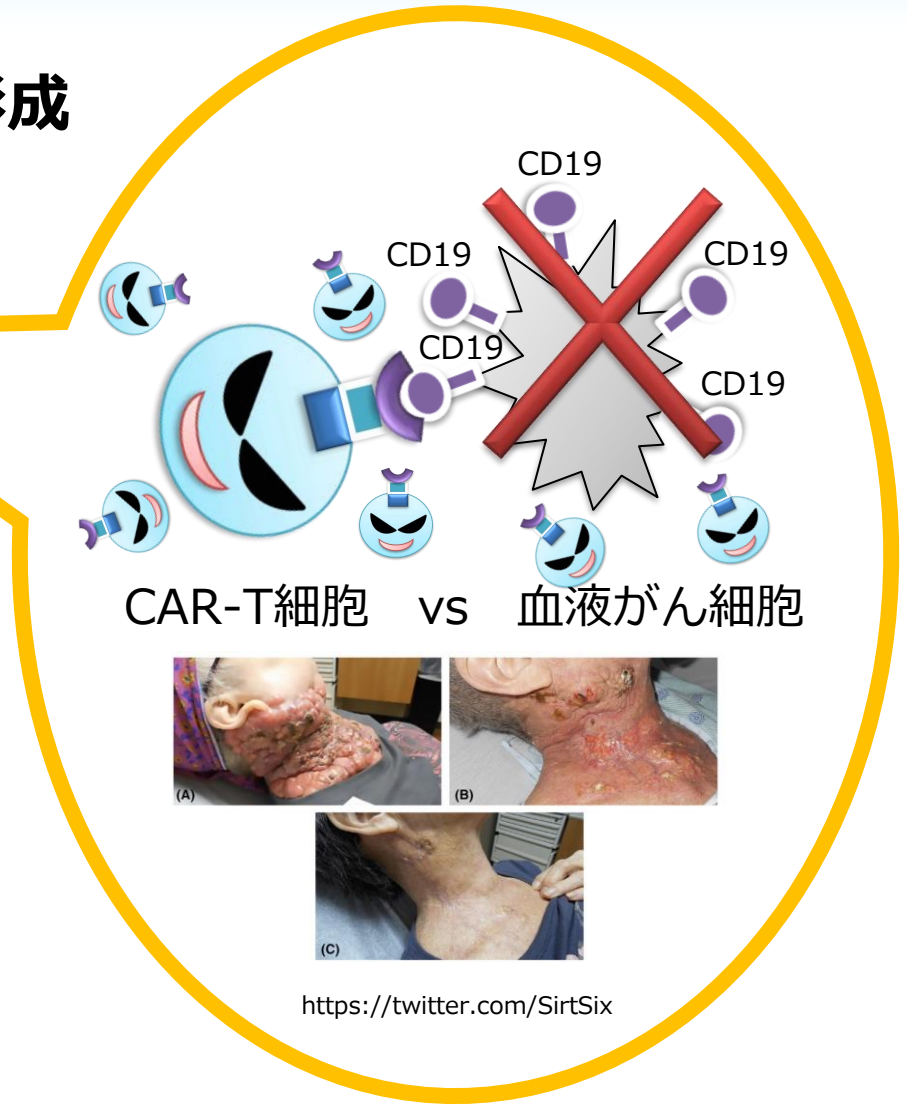
**将来のパンデミックに備え
日本もmRNAワクチン技術
を保有すべき！**

©2024 CRDS

「ex vivo遺伝子治療」

- ✓CAR-T治療が登場、高い治療効果
- ✓各国で次々と製品化し、巨大市場形成





©2024 CRDS

「*in vivo*遺伝子治療」

✓ **芳香族Lアミノ酸脱炭酸酵素（AADC）欠損症**

➢ **生まれつきAADC遺伝子が欠損**

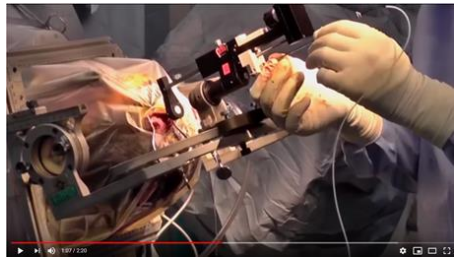
- 寝たきり、体を動かせない、発声不可、全身の硬直
- 世界で100症例、日本では6症例

✓ 村松博士(自治医大/㈱遺伝子治療研究所)らが開発した

AAV-hAADC-2vectorの臨床試験（2015年～）

✓ **劇的な治療効果**が得られた

→自らの意思で物を掴める、歩行器で歩ける



映画「奇跡の子どもたち」公開映像より抜粋
https://www.youtube.com/watch?v=1lztPfske5U&feature=youtu.be

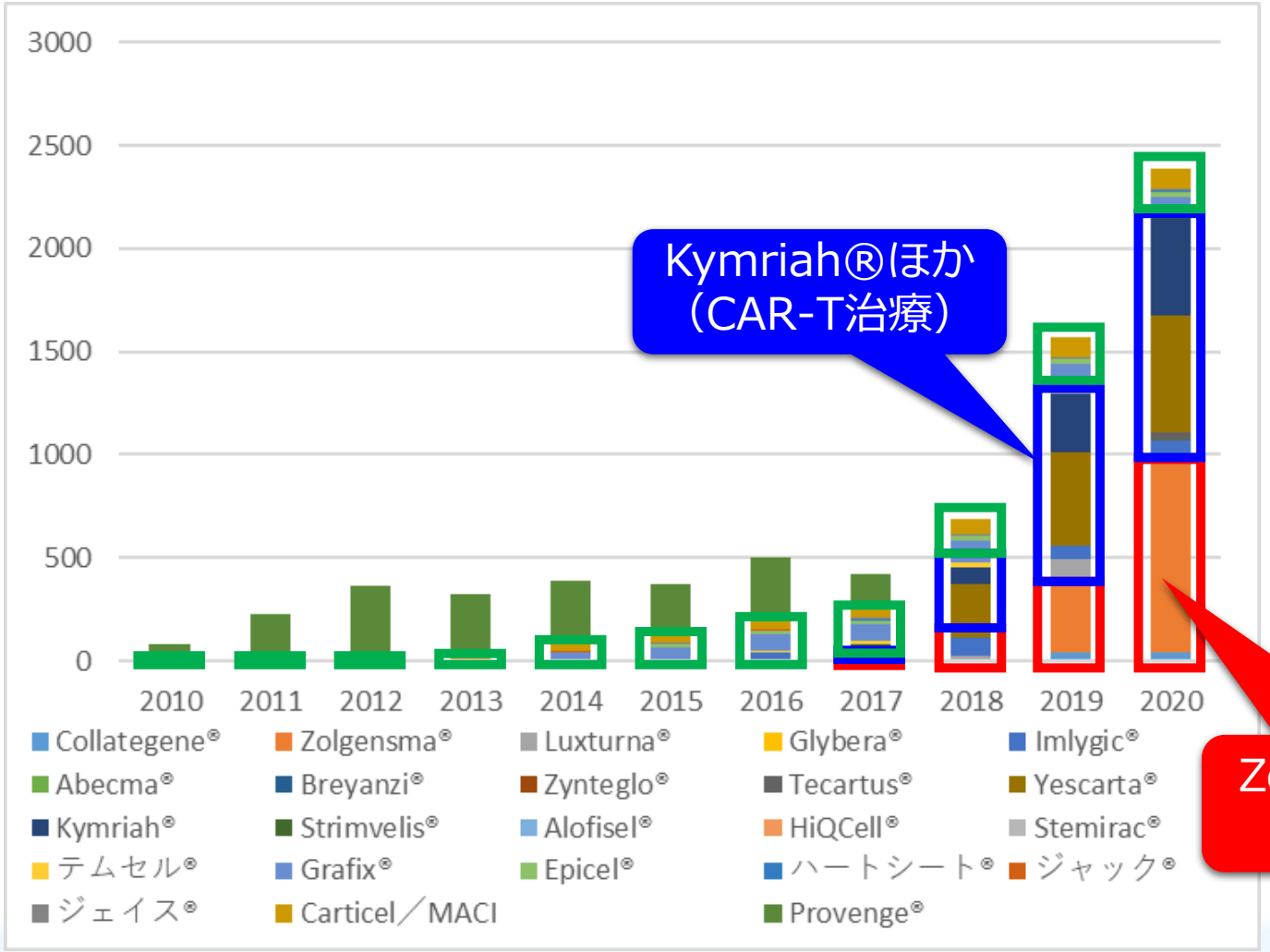
✓ PTC Therapeutics社が欧州で臨床試験を実施、2022年5月EMA承認「Upstaza」

✓ **日本の先鋭的な遺伝子治療が海外で製品化した事例**

©2024 CRDS

「細胞治療[再生医療]①」

✓ 細胞治療[再生医療]の製品は40件を超えるが、**世界市場は伸び悩み（＜1000億円）**



細胞治療[再生医療]

*ex vivo*遺伝子治療

*in vivo*遺伝子治療

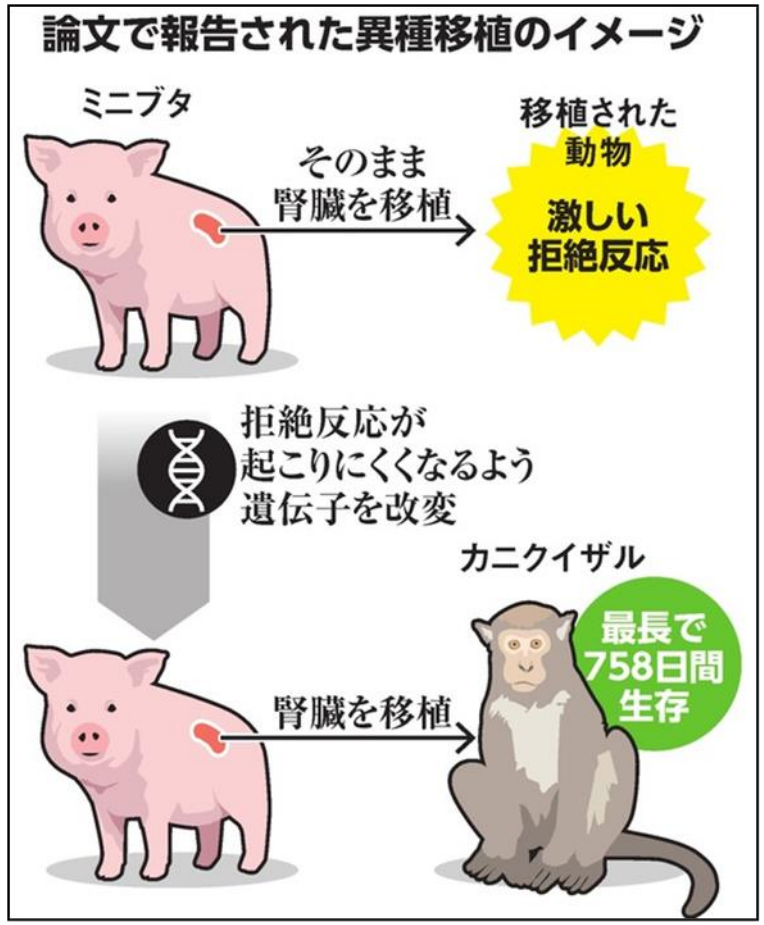
✓ 近年、遺伝子治療が大成功し急成長

✓ 一方、再生医療はまだ停滞

出典：各社ホームページ等の公開情報を元にJST-CRDS作成

©2024 CRDS

「細胞治療[再生医療]②」



朝日新聞デジタル
https://www.asahi.com/articles/ASRBC75WWRBBUTFL01Z.html

米国で先進的な事例が次々と

1）2022年、**ブタ心臓をヒトへ移植**
→**2ヶ月間生存**（CMVで死亡）
→「10遺伝子改変ブタ」（米Revivicor社）

2）2023年、**ブタ腎臓をサルへ移植**
→**2年間生存**
→「69遺伝子改変ブタ」（米eGenesis社）
→eGenesis社は日本にも進出

©2024 CRDS

「治療アプリ」

✓ ADHDの治療薬として「治療用ゲーム」が承認

①敵を補足する

②自分を動かす

大脳皮質の特定部位が刺激され、
注意機能が向上（＝**ADHDの症状改善**）

ADAM GAZZALEY博士

©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

©2024 CRDS

これから重要と思われる方向性（主に作用機序の観点から）

特に重要

重要

◎：上市製品多い
○：上市製品少ない
△：研究段階

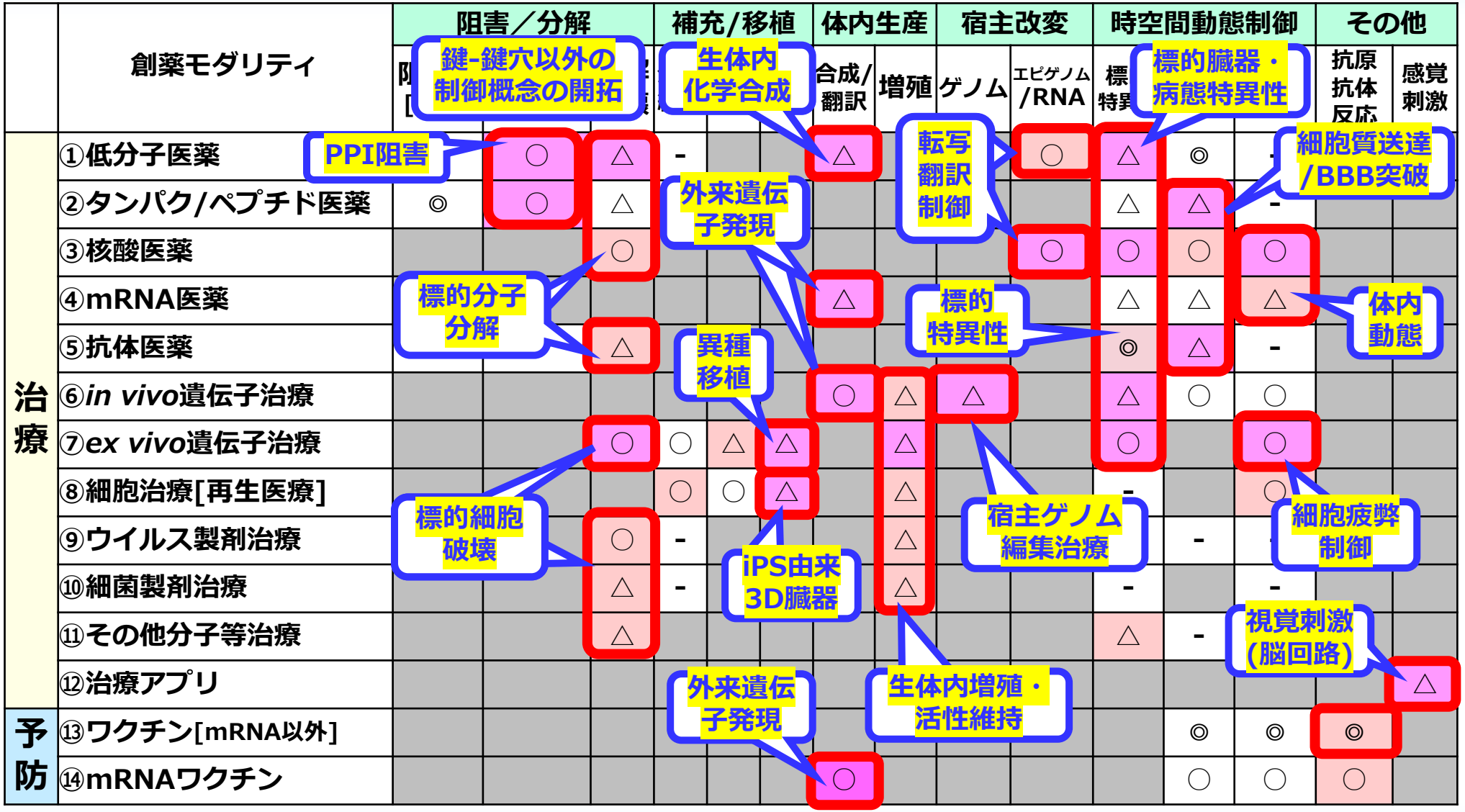
	創薬モダリティ	阻害／分解			補充/移植			体内生産		宿主改変		時空間動態制御			その他	
		阻害①[鍵穴]	阻害②[相互作用]	分解破壊	分子細胞	2D組織	3D臓器	合成/翻訳	増殖	ゲノム	エピゲノム/RNA	標的特異性	細胞膜透過	長期持続	抗原抗体反応	感覚刺激
治療	①低分子医薬	◎	○	△	-			△			○	△	◎	-		
	②タンパク/ペプチド医薬	◎	○	△	◎							△	△	-		
	③核酸医薬			○							○	○	○	○		
	④mRNA医薬							△				△	△	△		
	⑤抗体医薬	◎	◎	△								◎	△	-		
	⑥*in vivo*遺伝子治療							○	△	△		△	○	○		
	⑦*ex vivo*遺伝子治療			○	○	△	△		△			○		○		
	⑧細胞治療[再生医療]				○	○	△		△			-		○		
	⑨ウイルス製剤治療			○	-				△			△	-	-		
	⑩細菌製剤治療			△	-				△			-		-		
	⑪その他分子等治療			△								△	-	-		
	⑫治療アプリ															△
予防	⑬ワクチン[mRNA以外]												◎	◎	◎	
	⑭mRNAワクチン							○					○	○	○	

©2024 CRDS

これから重要と思われる方向性（主に作用機序の観点から）

特に重要
重要

◎：上市製品多い
○：上市製品少ない
△：研究段階

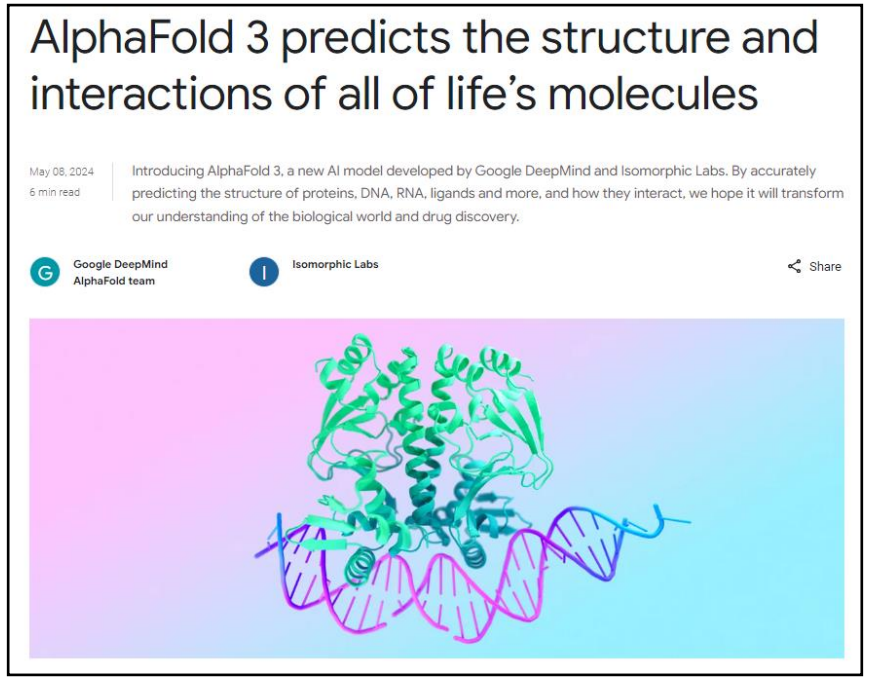


©2024 CRDS

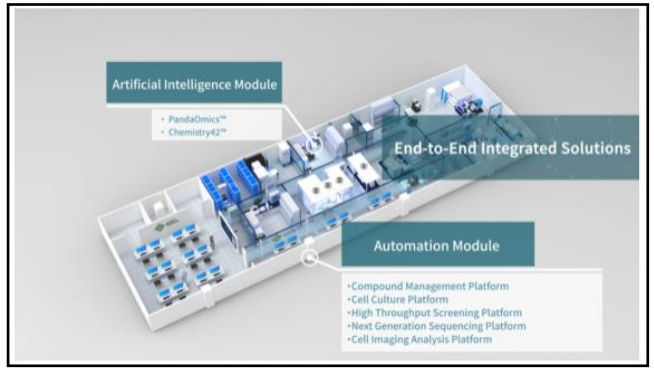
「AI創薬」

- ✓ 創薬の様々なプロセスをAIが改善・後押しへ
- ✓ ロボットを活用した実験データ収集で、AI創薬が更なる高みへ？

2024年5月「AlphaFold3」
★タンパク構造予測精度向上
★複合体構造予測もそれなりに



InsilicoMedicine社
AI主導ロボット創薬研究所



https://insilico.com/roboticslab

©2024 CRDS

「AI創薬」

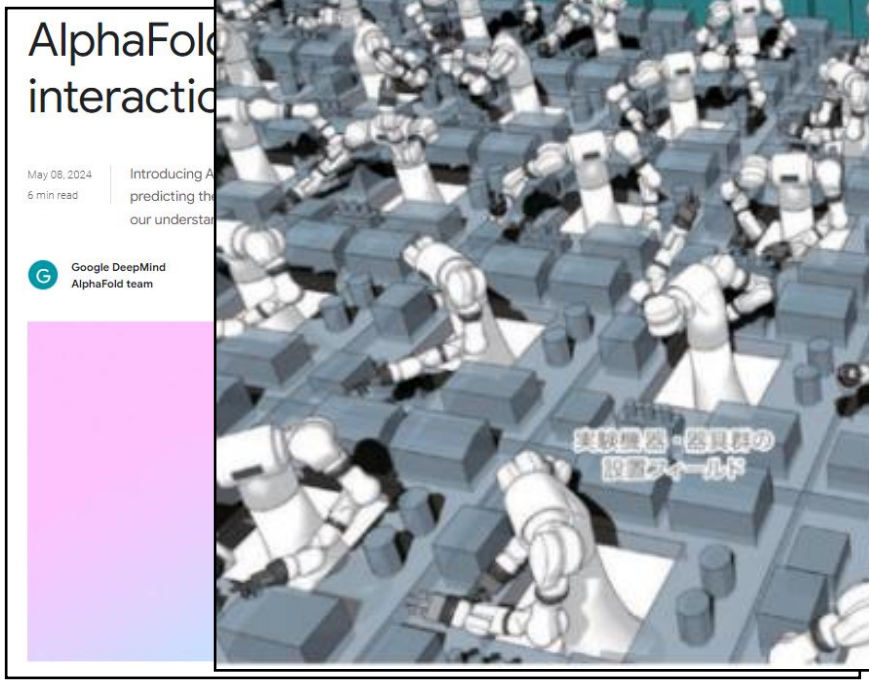
✓ 創薬の様々な
✓ ロボットを活

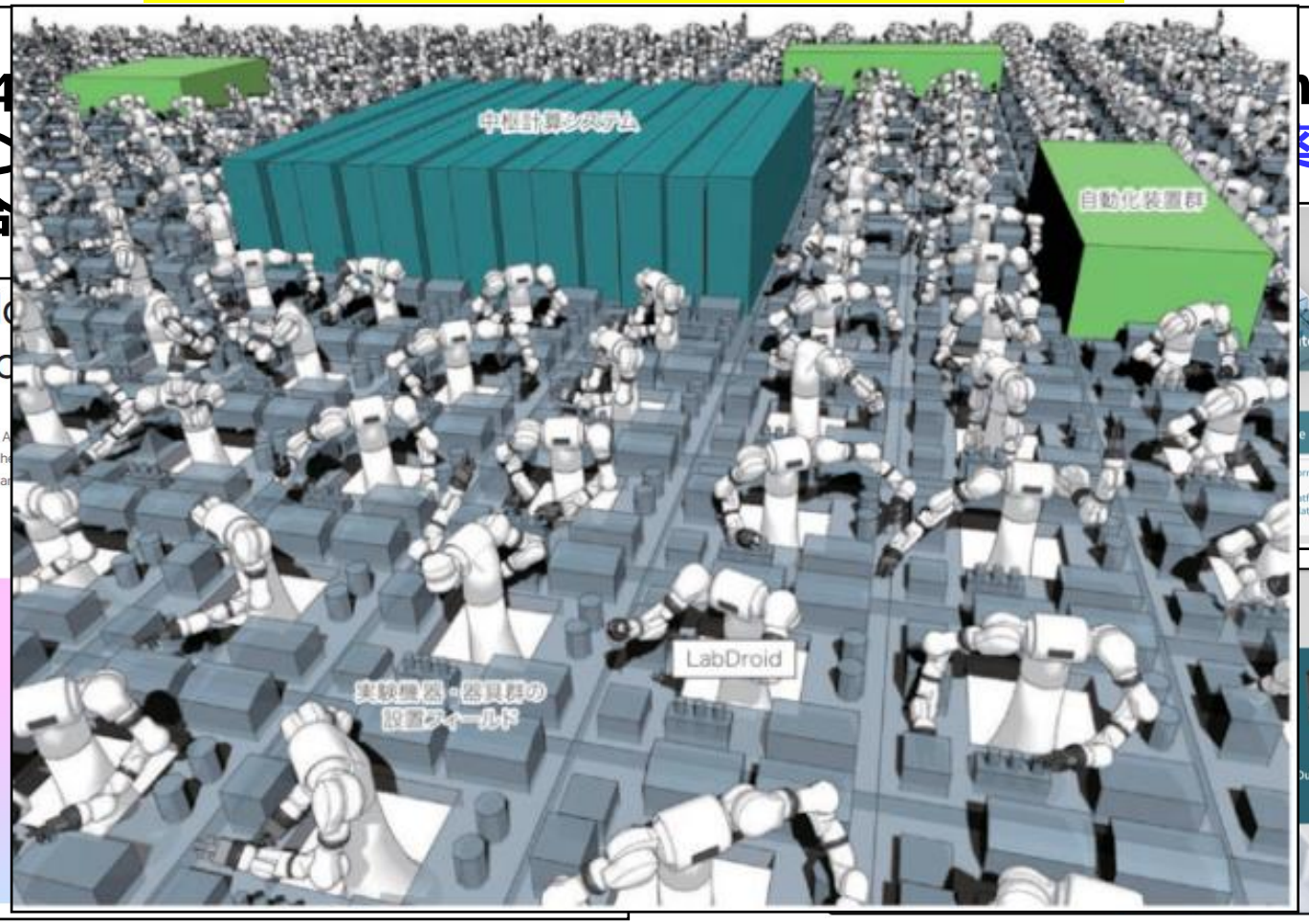
将来予想！？（谷内江ら）

高みへ？

2024
★タ
★複合

he社
薬研究所





https://www.yodosha.co.jp/yodobook/book/9784758122368/index.html

https://insilico.com/roboticslab

©2024 CRDS

小括：各創薬モダリティで重要と思われる研究開発課題群

✓ 各創薬モダリティにおいて**「デザイン」のアイデアと技術**が重要
✓ 加えて、**制御標的探索**や**製造技術**なども重要、**AI/*in silico***の活用も

創薬モダリティ	キーワード
低分子医薬	✓新型化合物[PROTAC等] ✓新規制御標的[PPI等] ✓AI/*in silico*創薬 ✓低分子探索基盤[DEL]
ペプチド医薬	✓新型ペプチド[人工構造] ✓新規制御標的[細胞内]
抗体医薬	✓新型抗体[多重特異/機能性] ✓新規制御概念[細胞内？] ✓抗体探索基盤[AI/*in silico*] ✓モダリティ複合化[ADC等]
核酸医薬	✓新型核酸[ヘテロ/人工修飾] ✓新規制御概念[発現調整等] ✓合成・製造技術[キラル等]

創薬モダリティ	キーワード
***ex vivo* 遺伝子治療**	✓ CAR-T改良[血液がん以外] ✓ デザイン技術開発 ✓ GMP製造[自家/他家]
***in vivo* 遺伝子治療**	✓ in vivo CAR-T ✓ ベクター技術(AAV等) ✓ GMP製造
mRNA ワクチン	✓ mRNA骨格改良 ✓ 新型コロナ以外へ
細胞治療 [再生医療]	✓ 異種移植、3D臓器構築 ✓ 創薬研究への展開
微生物製剤	✓ マイクロバイオーム治療 ✓ 組換え細菌治療 ✓ 腫瘍溶解ウイルス ✓ ファージ治療

©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

©2024 CRDS

創薬における3つの柱

柱①

病気の原因を解明する

例：認知症になる原因物質を探し出す！

柱②

病気の原因を制御する医薬品を開発

例：認知症の原因物質を除去できる医薬品をデザイン！

柱③

研究開発環境を整備

（体制・資金・人材・ルール）

©2024 CRDS

創薬のおかれた状況

創薬は超ハイリスク

10年間
数百～数千億円
成功率10%

1）リスクを下げる方策は？

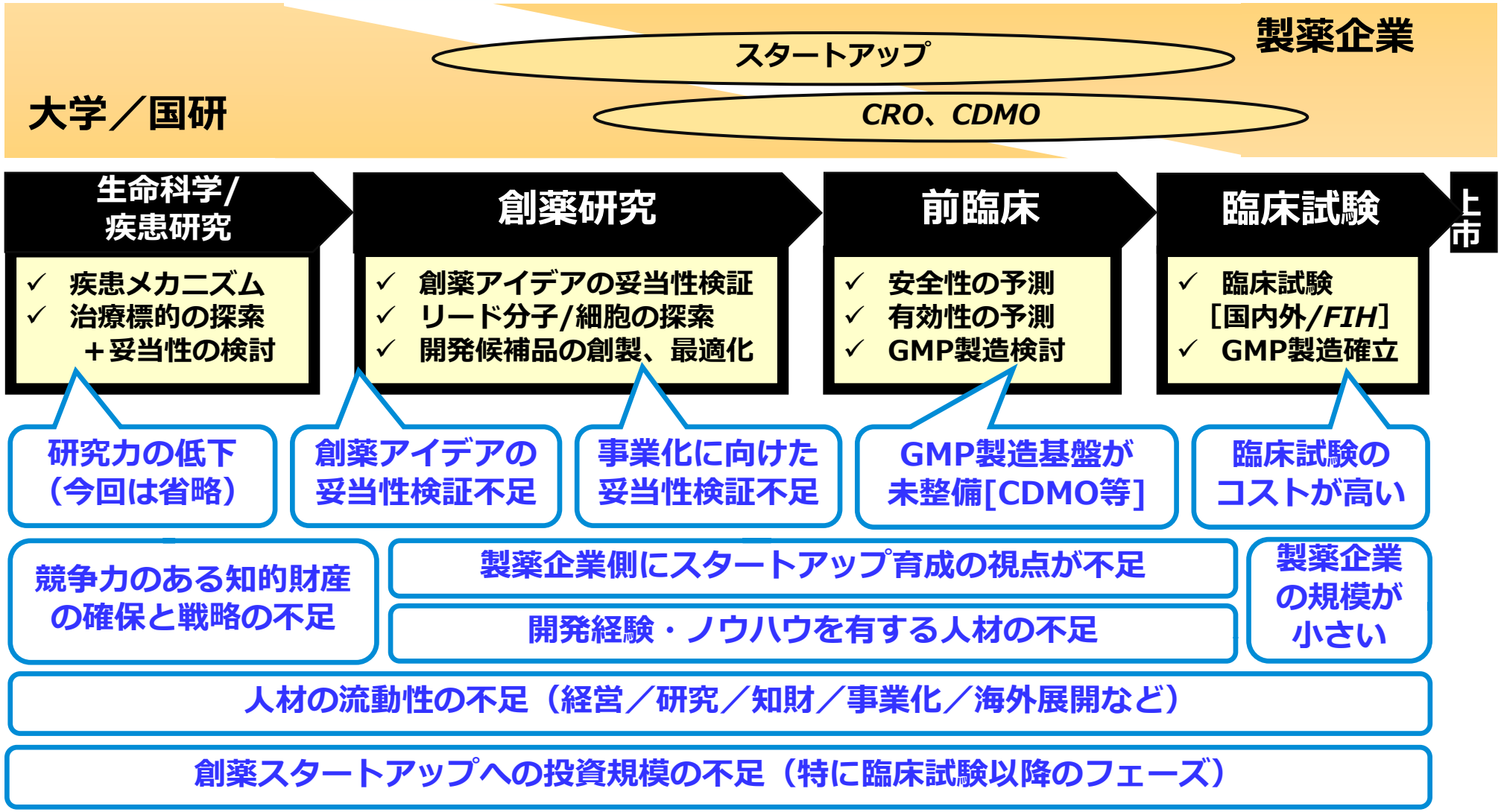
①技術：AI創薬、ヒト代替評価技術、リアルワールドデータ
②ルール：臨床試験、審査承認

2）リスクを踏まえた推進体制は？

①創薬スタートアップ（巨額の資金流入）
②GMP製造基盤の構築

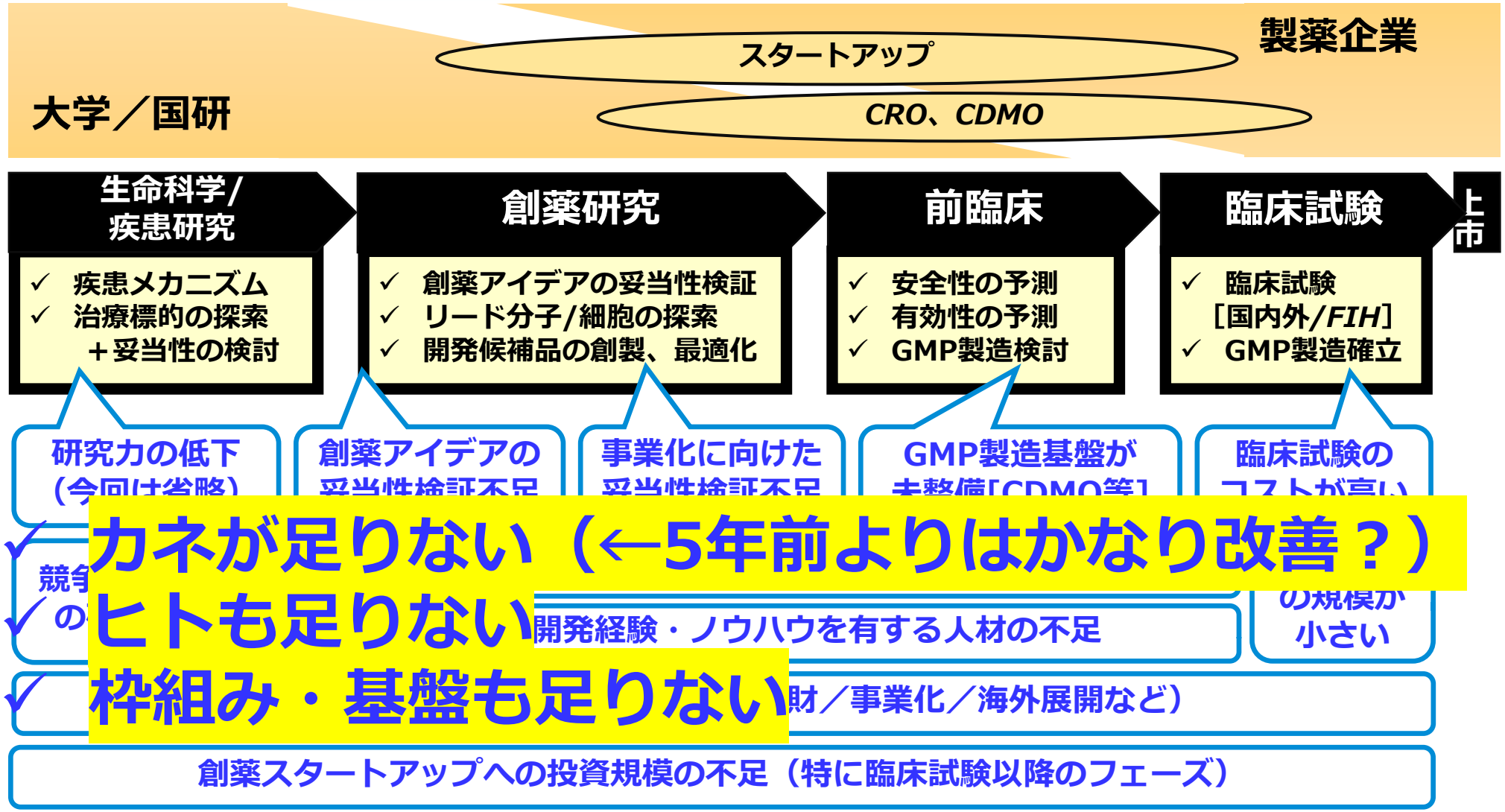
©2024 CRDS

わが国における創薬の問題点（主に推進体制）



©2024 CRDS

わが国における創薬の問題点（主に推進体制）



©2024 CRDS

創薬における3つの柱

柱①

病気の原因を解明する

例：認知症になる原因物質を探し出す！

柱②

病気の原因を制御する医薬品を開発

例：認知症の原因物質を除去できる医薬品をデザイン！

柱③

研究開発環境を整備

（体制・資金・人材・ルール）

©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

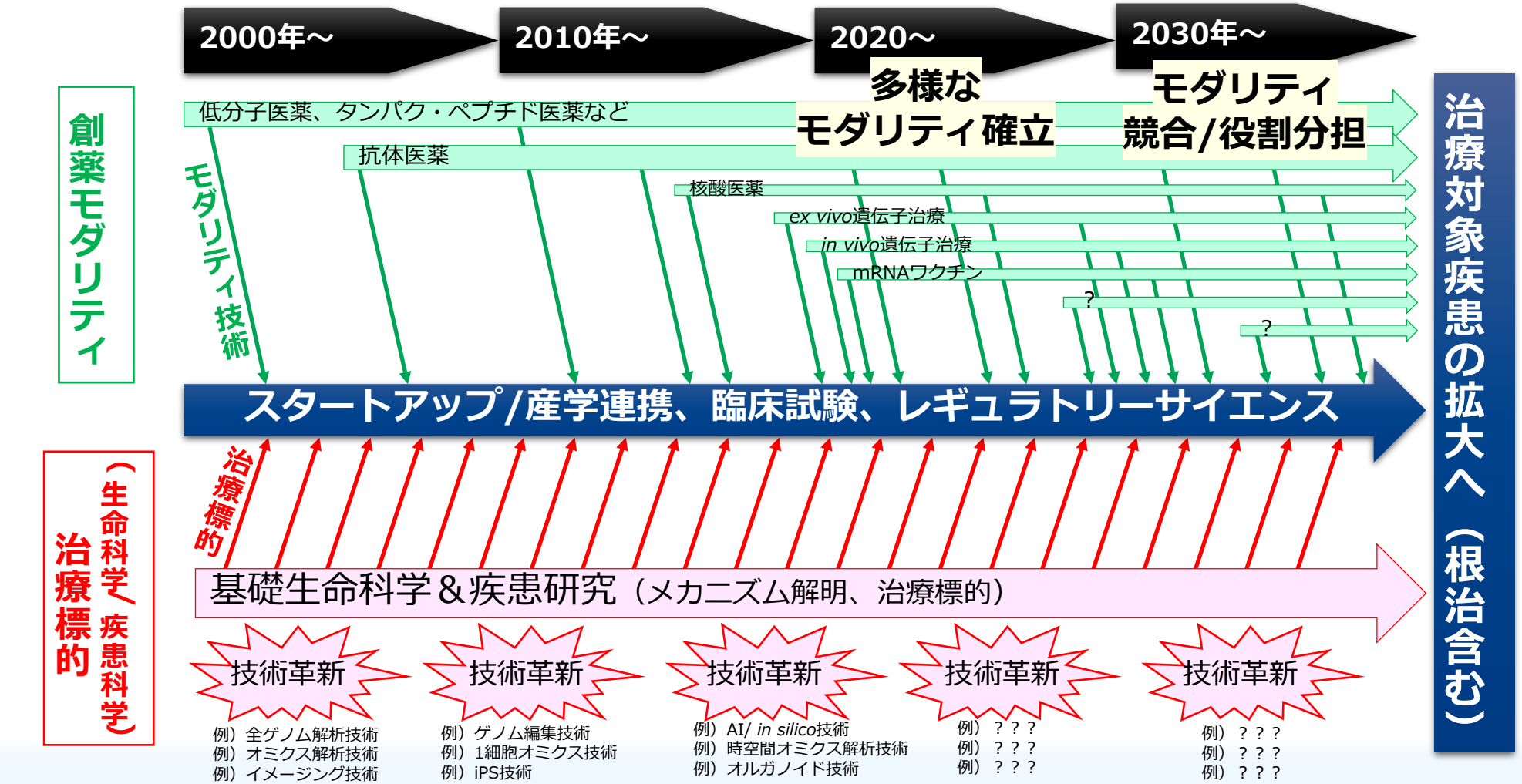
０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

©2024 CRDS

創薬モダリティ技術の開発と、基礎生命科学/疾患研究

- 創薬モダリティが急速に多様化し、成熟化が進むが、今後は緩やかになりそう
- 創薬モダリティ技術の洗練と治療標的の探索のバランスの良い推進が重要



©2024 CRDS

基礎生命科学・医学研究における、興味深い新潮流イメージ

✓ 幅広い基礎研究を進める事が、急がば廻れで画期的な創薬へ

分野	興味深い新潮流
がん	「細胞競合」「がん悪液質」「腫瘍免疫」
免疫	「免疫レパトア」「マクロファージ」「三次リンパ組織」
老化	「老化細胞」「“老化”治療」「老化の定量化」
臓器連関	「腸脳連関」「炎症反射」「脳ー全身連関（神経）」
進化医学（私案）	「古代ゲノム」「非モデル生物」「比較生物医学」

©2024 CRDS

発表内容

０１．医薬品産業／創薬の概観

０２．「創薬モダリティ」の研究開発動向

０３．今後重要と思われる研究開発の方向性イメージ

０４．創薬のエコシステムの概観

０５．基礎生命科学、基礎医学の重要性

０６．まとめ

©2024 CRDS

まとめ

- ✓ 医薬品市場は90年代から急成長、2028年は250兆へ！？
- ✓ モダリティ＝医薬品のタイプ
- ✓ 創薬モダリティは14種類（53種類）ぐらいある
  1つ1つの状況を把握した上で短期～長期的な技術開発が重要
- ✓ 創薬が超ハイリスク化、創薬スタートアップを含む最適な推進体制の構築が重要
- ✓ 創薬モダリティの成熟化が今後加速すると思われ、急がば廻れで基礎生命科学・医学研究が改めて重要

©2024 CRDS

■作成担当■
辻 真博 フェロー （ライフサイエンス・臨床医学ユニット）

CRDS-FY2024-XR-07
その他報告書

テクノロジー、サステナビリティ、Well-beingの交差点 ～イノベーションの動向を掴む～
「創薬に関する研究開発動向と今後の展望」

令和6年8月 August 2024
ISBN 978-4-88890-943-3

国立研究開発法人科学技術振興機構　研究開発戦略センター
Center for Research and Development Strategy, Japan Science and Technology Agency

〒102-0076 東京都千代田区五番町7 K's五番町
電 話　 03-5214-7481
E-mail crds@jst.go.jp
https://www.jst.go.jp/crds/

本資料は著作権法等によって著作権が保護された著作物です。
著作権法で認められた場合を除き、本資料の全部又は一部を許可無く複写・複製することを禁じます。
引用を行う際は、必ず出典を記述願います。
なお、本報告書の参考文献としてインターネット上の情報が掲載されている場合には、本報告書の発行日の1ヶ月前の日付で入手しているものです。
上記日付以降後の情報の更新は行わないものとします。

This publication is protected by copyright law and international treaties.
No part of this publication may be copied or reproduced in any form or by any means without permission of JST,
except to the extent permitted by applicable law.
Any quotations must be appropriately acknowledged.
If you wish to copy, reproduce, display or otherwise use this publication, please contact crds@jst.go.jp.
Please note that all web references in this report were last checked one month prior to publication.
CRDS is not responsible for any changes in content after this date.

Copyright © 2024 CRDS All Rights Reserved.