

米国バイオ医薬品企業 2013

研究開発、パイプライン、大手バイオ医薬品企業の動向・戦略



株式会社ユーディーアール
Universal Data Resources Inc.

「米国バイオ医薬品企業 2013」の御案内

(研究開発、パイプライン、大手バイオ医薬品企業の動向・戦略)

近年、多くの大手製薬会社にとって新薬を生み出すことが難しくなっています。さらに大型のブロックバスター医薬品の特許切れや、ジェネリック製品の台頭により、どの製薬会社も新たな収益源としての新薬開発が喫緊の課題になっています。

その対策として、大手製薬会社は組み換え DNA 技術、細胞融合法、細胞大量培養法などのバイオテクノロジーで製造された医薬品の開発に取り組み、巨額の資金と時間を投下していますが、自社内の研究体制だけでは技術進歩の速いバイオ医薬品分野の競争には勝てません。製薬企業が効率的に新薬を生み出すためには革新的な技術をもつバイオ医薬品企業との提携（ライセンスを導入したり、医薬品候補となる抗体や技術を買収したり）や企業自体を買収することが不可欠です。

なかでも米国は、バイオベンチャーの資金調達が容易であること、優秀な人材が世界中から集まること、起業に対する環境が整備されていることから、次々と高い技術や医薬品候補をもつバイオ医薬品企業が誕生しており、アライアンスパートナー又は創薬シーズを獲得する対象として注目されています。

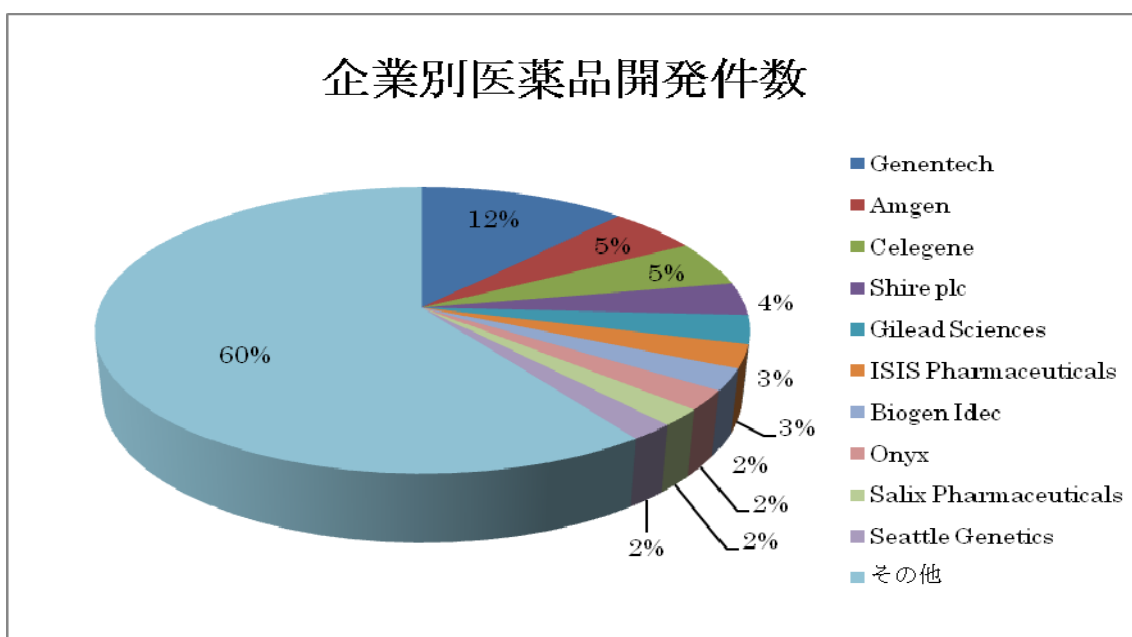
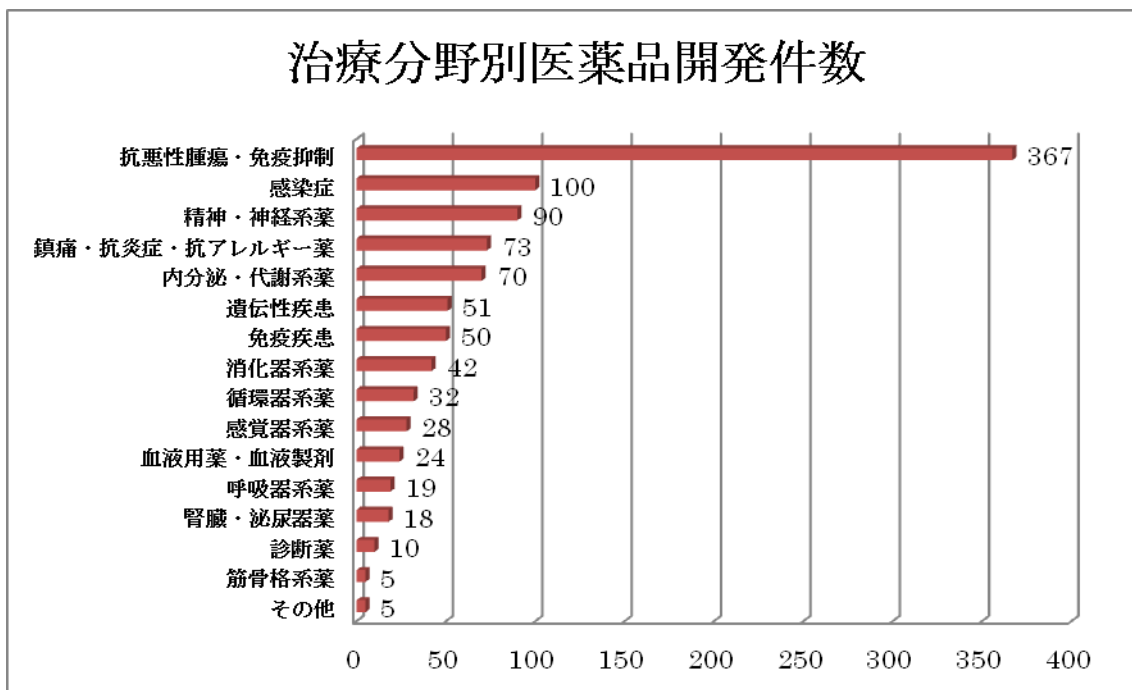
近年では大型買収も増えており、2011年に、米国の大手バイオベンチャーの Cephalon, Inc がイスラエルのテバファーマシューティカル・インダストリーズ・リミテッド (Teva Pharmaceutical Industries Ltd.) に 68 億ドルで買収されました。2012年には、BENLYSTA (自己免疫疾患の全身性エリテマトーデス治療薬) で知られる Human Genome Sciences が事業パートナーであったグラクソ・スミスクライン (GlaxoSmithKline) に買収されるなど、大手医薬品メーカーのバイオベンチャー買収競争が加速しています。

そこで「米国バイオ医薬品企業 2013」は米国の NASDAQ 市場に上場しているバイオ医薬品企業の中から、研究開発費投資額上位 100 社 (2010 年又は 2011 年度の研究開発費 2,000 万ドル以上に相当) の所有する計 984 のパイプラインに関し、開発段階、治療分野、医薬品名(開発コード、ブランド名、一般名)を分類・掲載するとともに、分野ごとの主要企業の開発傾向を解説しました。さらに主要医薬品会社 14 社については、企業概要、経営実績、研究開発動向とパイプライン、業務提携、買収等を分析し、その企業戦略と将来展望を解説。なお、分析したパイプラインには 2009 年に Roche に買収され、ニューヨーク証券取引所の上場を廃止した、最大手のバイオ医薬品メーカーである Genentech も含まれていません。

調査報告書の構成

本調査報告書は3章から構成されています。

第1章ではバイオ医薬品の開発動向としてGenentechとJADSAQに上場する大手バイオ医薬品企業の計100社が所有するパイプラインを抽出し、企業別、開発段階別（前臨床、第1相臨床試験、第2相臨床試験、第3相臨床試験、NDA：新薬承認申請件数、承認済件数：米国食品医薬品局等から既に承認を得ている件数）を分析しました。



第2章では第1章で抽出したバイオ医薬品企業100社のパイプライン計984を疾病分野別に16のカテゴリー（抗悪性腫瘍・免疫抑制薬、感染症治療薬、精神・神経系疾患治療薬、鎮痛・抗炎症・抗アレルギー疾患治療薬、内分泌・代謝系疾患治療薬、遺伝性疾患治療薬、免疫疾患治療薬、消化器系疾患治療薬、循環器系疾患治療薬、感覚器系疾患治療薬、血液用薬・血液製剤、呼吸器系疾患治療薬、腎臓・泌尿器疾患治療薬、診断薬、筋骨格系治療薬、その他医薬品：検査薬や解毒薬等）に分類、各分野別に開発段階、治療分野、医薬品名（開発コード、ブランド名、一般名）に整理し、主要企業の開発傾向を解説しました。

サンプルページ

表 2.6: 遺伝性疾患治療薬の開発件数と開発段階

企業名	前臨床	第一相	第二相	第三相	NDA申請	承認済	合計
Alexza Pharmaceuticals	0	0	0	0	1	0	1
Alnylam Pharmaceuticals	1	0	0	0	0	0	1
Amicus Therapeutics	3	0	2	1	0	0	6
Biocryst Pharmaceuticals	1	0	0	0	0	0	1
Biogen Idec	0	1	0	2	0	0	3
BioMarine Pharmaceuticals	1	3	1	1	0	3	9
Dyax	0	0	0	0	0	1	1
Genentech	0	0	0	0	0	2	2
ISIS Pharmaceuticals	1	2	0	0	0	0	3
Nektar Therapeutics	1	0	1	0	0	0	2
Osiris Therapeutics	0	0	0	1	0	0	1
Protalix Biotherapeutics	1	0	1	0	0	1	3
QLT Inc.	0	2	0	0	0	0	2
Sarepta Therapeutics	2	0	1	0	0	0	3
Shire plc	2	2	1	0	0	4	9
Vertex Pharmaceuticals	0	0	2	0	0	1	3
Viropharma	0	0	0	0	0	1	1
総計	13	10	9	5	1	13	51

遺伝性疾患治療薬の分野では17社が研究開発に取り組んでおり、51のパイプラインがある。その内、BioMarine、Shire plc、Amicus Therapeuticsの3社が全体の50%弱のパイプラインを保有している。

BioMarine Pharmaceuticalsはムコ多糖症VI(MPS VI)を適応とする、Naglazyme(一般名:galsulfase)とAldurazyme(一般名:aronidase)及び、フェニールケトン尿症(PKU)を適応とするKuvan(サプロプテリン・ディハイドロクロライド)錠を上市しており、その他にポンペ病、遺伝性の癌、軟骨形成不全症(アコンドラプラジア)、遅発型小児性神経セロイドリポフスチン沈着症(バッテン病)の医薬品候補を保有している。Shire plcはファブリー病治療薬のREPLAGAL(一般名:agalsidase alfa)とハンター症候群(MPS II型ムコ多糖症)治療薬のELAPRASE(一般名:idursulfase)を欧州、南米、アジアで上市している。さらに、ゴーシェ病1型(成人型)治療薬のVPRIV(一般名:velaglucerase alfa)と遺伝性血管浮腫治療薬のFIRAZYR(一般名:icatibant)を米国、欧州、南米で上市している。その他、同社はデュシェンヌ型筋ジストロフィー、サンフィリポ症候群(ムコ多糖症IIIA型)、異染性白質ジストロフィー等の医薬品を開発中。

遺伝性疾患治療薬 (1)

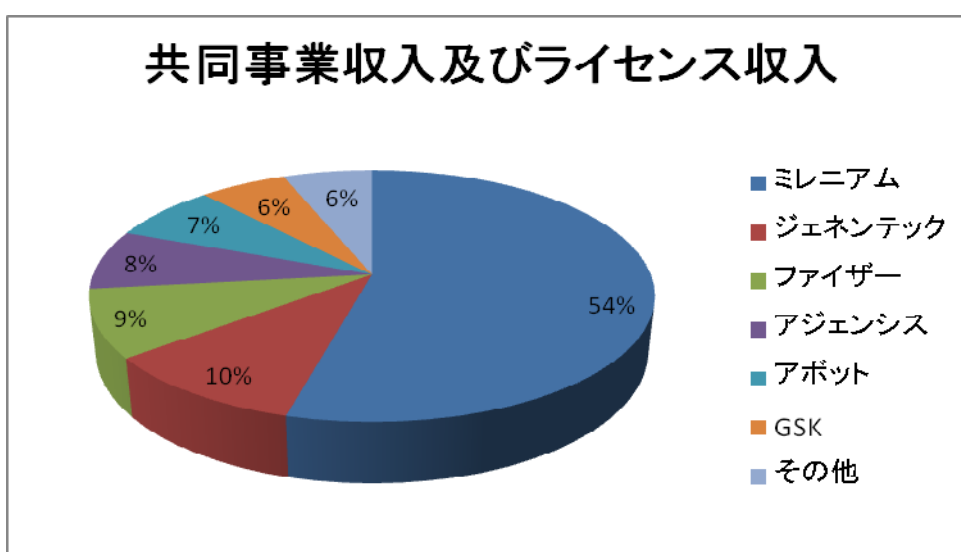
企業名	医薬品名 (ブランド名・一般名・ 開発コード)	適応	開発段階
Alexza Pharmaceuticals	ADASUVE (Staccato loxapine)	統合失調症、1型双極 性障害	NDA申請
Anylam Pharmaceuticals	ALN-AT3	血友病、出血性疾患	前臨床
Amicus Therapeutics	Migalastat HCl (Chaperone Monotherapy)	ファブリー病(細胞内リソソ ム酵素の1つであるαガラクト シダーゼの活性が欠損・もし くは低下して生じる糖脂質代 謝異常病)	第三相臨床
Amicus Therapeutics	Migalastat HCl (Chaperone+酵素補充 療法 Co-Administration)	ファブリー病	第二相臨床
Amicus Therapeutics	Migalastat HCl (Chaperone+酵素補充 療法 Co-Formulation)	ファブリー病	前臨床
Amicus Therapeutics	Duvoglustat HCl (Chaperone+酵素補充 療法 Co-Administration)	ポンペ病(先天代謝異 常疾患)	第二相臨床
Amicus Therapeutics	AT2101,AT3375 (Chaperone+酵素補充 療法Combination)	ゴーシェ病(ライソゾー ム病、先天性代謝異常 症、常染色体劣性遺 伝)	前臨床
Amicus Therapeutics	Chaperone+酵素補充 療法Combination	その他リソソーム蓄積 症	前臨床
Biocryst Pharmaceuticals	BCX4161 (plasma kallikrein inhibitor)	遺伝性血管浮腫	前臨床
Biogen Idec	Factor VIII Fe	血友病A	第三相臨床

第3章では2010年又は2011年の会計年度で1億4,500万ドル以上の研究開発費を投資している、米国を代表する大手バイオ医薬品企業14社に関し、企業概要、経営実績、研究開発とパイプライン、企業提携や買収を分析し、その企業戦略と将来展望を解説しました。

本章に掲載した14社の企業名は以下の通り：Amgen Inc.（アムジェン）、Amylin Pharmaceuticals Inc.（アミリン ファーマシューティカルズ）、Biogen Idec, Inc.（バイオジェン・アイデック）、BioMarine Pharmaceuticals, Inc.（バイオマリン ファーマシューティカルズ）、Celgene Corporation（セルジーン・コーポレーション）、Cubist Pharmaceuticals, Inc.（キュビスト ファーマシューティカルズ）、Exelixis Inc.（エグゼリキス）、Gilead Sciences, Inc.（ギリアド・サイエンス）、Incyte Corporation（インサイト・コーポレーション）、Onyx Pharmaceuticals Inc.（オニクス ファーマシューティカルズ インク）、Regeneron Pharmaceuticals, Inc.（リジェネロン）、Seattle Genetics, Inc.（シアトル ジェネティクス）United Therapeutics Corporation（ユナイテッド セラピューティクス コーポレーション）、Vertex Pharmaceuticals, Inc.（バーテックス・ファーマシューティカルズ）

サンプルページ

Seattle Genetics 社の共同事業収入及びライセンス収入



共同事業収入及びライセンス収入

売上単位:千ドル

製品名	2009		2010		2011	
	売上高	シェア	売上高	シェア	売上高	シェア
ミレニアム	1,690	3.3%	16,040	14.9%	27,914	54.2%
ジェネンテック	41,594	80.0%	82,819	77.1%	5,302	10.3%
ファイザー	0	0.0%	0	0.0%	4,500	8.7%
アジェンシス	4,029	7.8%	2,256	2.1%	3,957	7.7%
アボット	0	0.0%	219	0.2%	3,721	7.2%
GSK	0	0.0%	3,013	2.8%	3,037	5.9%
その他	4,652	9.0%	3,123	2.9%	3,106	6.0%
合計	51,965	100.0%	107,470	100.0%	51,537	100.0%

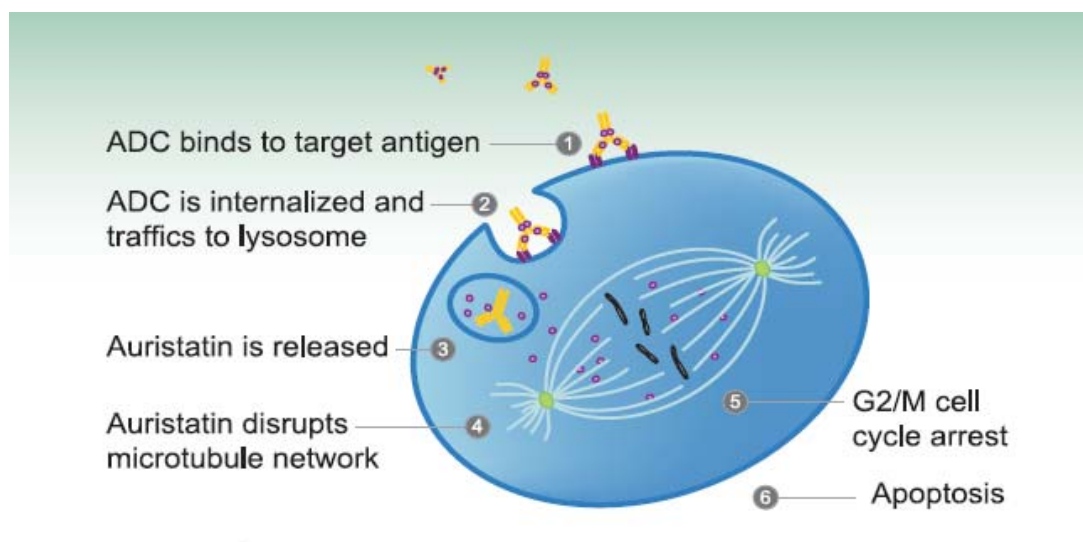
情報源: Seattle Genetics, Inc. 年次報告書

Seattle Genetics 社のパイプライン

シアトルジェネティクスは、抗体薬物複合体（Antibody-Drug Conjugate）を基に、多様な悪性腫瘍に対処する抗癌剤を開発している。製品ポートフォリオは、2つの適応症で承認取得済みの「ADCETRIS®」と4つの臨床試験中の医薬品候補、3つの前臨床過程の医薬品候補で構成されている。

商品化している製品は、悪性リンパ腫治療薬「ADCETRIS®」（米欧製品名、一般名：ブレンツキシマブ ベドチン）のみ。ADCETRISはCD30抗原を標的とするモノクローナル抗体と微小管阻害剤モノメチルアウリスタチンE（以下「MMAE」）をたんぱく質分解酵素により開裂するリンカーで結合させたADCである。この結合システムはCD30を発現した腫瘍細胞に取り込まれた後、MMAEを放出する。

Seattle Genetics Inc.の最先端次世代ADC（抗体薬物複合体）技術



- ①ADC が標的抗原に結合
- ②ADC が吸収されリソソームに運ぶ
- ③アウリスタチン放出
- ④アウリスタチンが微小管ネットワークを破壊
- ⑤G2 期/M 期の細胞周期停止
- ⑥アポトーシス（プログラム細胞死）

臨床試験中の医薬品候補の中心になるのは CD30 抗原を標的とするモノクローナル抗体ブレンツキシマブで、多様な悪性リンパ腫（ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫）の適応に関して第一相から第三相までの臨床実験が進められている。またいくつかの適応症に対しては、モノクローナル抗体と従来の化学療法を併用した抗癌剤療法を開発している。

目次

項目	ページ
エグゼクティブサマリー	7
第1章 バイオ医薬品の開発動向	10
1. 治療分野別医薬品開発件数	10
2. 企業別医薬品開発件数	12
3. 開発段階別医薬品件数	16
第2章 医薬品分野別パイプラインの概要	17
1. 抗悪性腫瘍・免疫抑制薬	18
2. 感染症治療薬	58
3. 精神・神経系疾患治療薬	70
4. 鎮痛・抗炎症・抗アレルギー疾患治療薬	81
5. 内分泌・代謝系疾患治療薬	91
6. 遺伝性疾患治療薬	100
7. 免疫疾患治療薬	108
8. 消化器系疾患治療薬	115
9. 循環器系疾患治療薬	122
10. 感覚器系疾患治療薬	128
11. 血液用薬・血液製剤	133
12. 呼吸器系疾患治療薬	138
13. 腎臓・泌尿器疾患治療薬	142
14. 診断薬	146
15. 筋骨格系疾患治療薬	148
16. その他医薬品:検査薬や解毒薬等	149
第3章 主要バイオ医薬品企業	150
Amgen Inc. (アムジェン)	151
会社概要	151
主要拠点	152
経営実績	153
(1) 経営実績推移	153
(2) 製品別売上高推移	155
研究開発及びパイプライン	156
業務提携	158
企業戦略と将来展望	159
Amylin Pharmaceuticals Inc. (アミリン)	161
会社概要	161
経営実績	162
研究開発及びパイプライン	164
業務提携	168
企業戦略及と将来展望	169

項目	ページ
Biogen Idec, Inc. (バイオジェン・アイデック)	170
会社概要	170
経営実績	171
(1) 経営実績推移	171
(2) 製品別売上高	172
研究開発及びパイプライン	174
業務提携	176
企業戦略と将来展望	178
BioMarine Pharmaceuticals, Inc. (バイオマリン)	180
会社概要	180
経営実績	181
(1) 経営実績推移	181
(2) 製品別売上高推移	183
(3) 地域別売上高推移	183
研究開発及びパイプライン	184
業務提携及び企業買収	187
企業戦略と将来展望	189
Celgene Corporation (セルジーン)	190
会社概要	190
経営実績	191
(1) 経営実績推移	191
(2) 製品別売上高推移	193
(3) 地域別売上高推移	194
研究開発及びパイプライン	195
業務提携	197
企業戦略と将来展望	199
Cubist Pharmaceuticals, Inc. (キュビスト)	200
会社概要	201
経営実績	201
研究開発及びパイプライン	203
業務提携及び企業買収	206
企業戦略と将来展望	208
Exelixis Inc. (エグゼリキス)	210
会社概要	210
経営実績	211
研究開発及びパイプライン	213
業務提携	216
企業戦略と将来展望	217

項目	ページ
Gilead Sciences, Inc. (ギリアド・サイエンス)	218
会社概要	218
経営実績	219
(1) 経営実績推移	219
(2) 製品別売上高推移	221
(3) 地域別売上高推移	222
研究開発及びパイプライン	223
業務提携	225
企業買収	226
企業戦略と将来展望	227
Incyte Corporation (インサイト)	228
会社概要	228
経営実績	229
研究開発及びパイプライン	231
業務提携	233
企業戦略と将来展望	234
Onyx Pharmaceuticals Inc. (オニキス)	235
会社概要	235
経営実績	236
研究開発及びパイプライン	238
業務提携及び企業買収	241
企業戦略と将来展望	243
Regeneron Pharmaceuticals, Inc. (リジェネロン)	245
会社概要	245
経営実績	246
(1) 経営実績推移	246
(2) 売上内訳	248
研究開発及びパイプライン	249
業務提携	251
企業戦略と将来展望	253
Seattle Genetics, Inc. (シアトル ジェネティクス)	254
会社概要	254
経営実績	255
(1) 経営実績推移	255
(2) 共同事業収入及びライセンス収入内訳	257
研究開発及びパイプライン	258
業務提携	261
企業戦略と将来展望	263

項目	ページ
United Therapeutics Corporation (ユナイテッド)	264
会社概要	264
経営実績	265
研究開発及びパイプライン	268
業務提携	270
企業戦略と将来展望	273
Vertex Pharmaceuticals, Inc. (バーテックス)	275
会社概要	275
経営実績	276
(1) 経営実績推移	276
(2) 販売医薬品	278
研究開発及びパイプライン	279
業務提携及び企業買収	281
企業戦略と将来展望	282

主要統計

主要統計とは、下記に番号が付けられている、分野別医薬品開発件数、企業別医薬品開発件数、開発段階別医薬品件数、各治療分野別の開発件数と開発段階の統計表のみを指す。その他、本調査報告書に記載されている、各治療分野の製品別一覧や個別企業の経営実績推移、主要拠点、製品別売上高推移、地域別売上高推移、パイプライン等の表は含まない。

表題	ページ
表1.1 : 治療分野別医薬品開発件数	10
表1.2 : 企業別医薬品開発件数	12
表1.3 : 開発段階別医薬品件数	16
表2.1 : 抗悪性腫瘍・免疫抑制薬の開発件数と開発段階	18
表2.2 : 感染症治療薬の開発件数と開発段階	58
表2.3 : 精神・神経系疾患治療薬の開発件数と開発段階	70
表2.4 : 鎮痛・抗炎症・抗アレルギー疾患治療薬の開発件数と開発段階	81
表2.5 : 内分泌・代謝系疾患治療薬の開発件数と開発段階	91
表2.6 : 遺伝性疾患治療薬の開発件数と開発段階	100
表2.7 : 免疫疾患治療薬の開発件数と開発段階	108
表2.8 : 消化器系疾患治療薬の開発件数と開発段階	115
表2.9 : 循環器系疾患治療薬の開発件数と開発段階	122
表2.10 : 感覚器系疾患治療薬の開発件数と開発段階	128
表2.11 : 血液用薬・血液製剤の開発件数と開発段階	133
表2.12 : 呼吸器系疾患治療薬の開発件数と開発段階	138
表2.13 : 腎臓・泌尿器疾患治療薬の開発件数と開発段階	142
表2.14 : 診断薬の開発件数と開発段階	146
表2.15 : 筋骨格系疾患治療薬の開発件数と開発段階	148
表2.16 : その他医薬品の開発件数と開発段階	149

著者紹介：小椋貴央
ボストン大学大学院 国際関係学部 修士課程卒
市場調査会社「株式会社ユーディーアール」取締役

発行日：2013年2月15日
ページ数：283ページ（カラー刷り）
冊子体（税込価格）：157,500円
電子媒体（税込価格）：189,000円（シングルユーザーライセンス）
電子媒体（税込価格）：262,500円（マルチユーザーライセンス：2-5ライセンス）
電子媒体（税込価格）：525,000円（コーポレートライセンス）
冊子体＋電子媒体（税込価格）：210,000円

出版社：株式会社ユーディーアール
住 所：東京都港区赤坂 1-14-5 アークヒルズエグゼクティブタワーN313
TEL：03-5545-9597（担当：小椋） FAX：03-5545-9598
E-mail:takao.ogura@udri.co.jp URL：<http://www.udri.jp>