



2016年8月

株式会社三井住友銀行 CA本部 企業調査部  
ニューヨーク駐在 長尾 拓

## 成長が期待される米国の希少疾患治療薬市場

米国の医薬品業界では、公的医療保険の費用負担拡大に伴い薬価引き下げ圧力が強まっています。こうしたなか、患者数が少なく治療法が確立されていない希少疾患分野では、比較的薬価を維持しやすいため、創薬ベンチャーや専門医薬品メーカーを主体とした新薬開発と大手医薬品メーカーによる買収が活発化しています。

### 希少疾患治療薬の特徴

米国では「米国における患者数が20万人未満の疾患」を希少疾患と定義しており、同様の疾患は世界に約7,000疾患あるとされています。米国政府はこれらの治療薬（Orphan Drug）の開発を1983年から支援しており、現在では、①独占販売期間が新薬承認から7年間と通常の新薬（5年間）より長く設定されているほか、②研究開発費の50%を税額控除出

来ること、③新薬の審査を行う米国食品医薬品局（以下、FDA）への申請費用免除、などの支援策が講じられています（図表1）。

加えて、希少疾患治療薬は、市場が細分化されていることから新薬同士の競合がほとんどなく、特許切れ後もジェネリック医薬品に侵食されにくいという特徴があります。このため、平均で通常の新薬の5倍以上とされる高い薬価を維持しつつ、長期間にわたり市場を独占することが可能となります。

しかしながら希少疾患治療薬の開発には、①患者数が少なく治験が難しいこと、②遺伝子組み換えなど高度な技術が必要であること、などから通常の新薬と比べて高いリスクを伴います。また、すべての希少疾患治療薬を合わせても、米国の医薬品市場全体の1割弱を占める市場に過ぎません。

このため大手医薬品メーカーは、希少疾患治療薬は医薬品の中でもとくにニッチかつ、ハイリスク・ハイリターンの分野として、投資を抑制してきた経緯があります。

### 大手医薬品メーカーのスタンスの変化

米国では、低所得者層などの無保険者削減を目的として2010年に制定されたいわゆる「オバマケア」が徐々に定着してきたことに伴い、公的医療保険の費用負担が増加しており、この財源を確保するため医薬品メーカーに対する薬価引き下げ圧力が強まっています。

また、大手医薬品メーカーでは有力

図表1 希少疾患の定義と支援策

	米国	日本	欧州
関連法規	Orphan Drug Act	薬事法 第77条の2	Regulation EC No.141
施行年	1983年	1993年	2000年
定義	・米国内の患者数が20万人未満(1万人あたり6.4人未満) ・有効な治療法が未確立	・日本国内の患者数が概ね5万人未満(1万人あたり4人未満) ・有効な治療法が未確立 ・生活面への長期にわたり支障を及ぼす	・欧州域内の患者数が1万人あたり5人以下 ・有効な治療法が未確立 ・生活に重大な困難を及ぼす非常に重症な状態
承認医薬品数	237	181	95
【政府支援策】			
独占販売期間	7年	10年	10年
税制優遇	臨床試験費の50%を税額控除	試験研究費の12%を税額控除	国により異なる
申請費用	免除	30%免除	免除
優先審査	有り	有り	有り

(資料) U. S. Food and Drug Administration (FDA)、厚生労働省を基に弊行作成

本資料は、情報提供を目的に作成されたものであり、何らかの取引を誘引することを目的としたものではありません。本資料は、作成日時時点で弊行が一般に信頼できるとされる資料に基づいて作成されたものですが、情報の正確性・完全性を弊行で保証する性格のものではありません。また、本資料の情報の内容は、経済情勢等の変化により変更されることがありますので、ご了承ください。ご利用に際しては、お客さまご自身の判断にてお取り扱いいただきますようお願い致します。本資料の一部または全部を、電子的または機械的手段を問わず、無断での複製または転送等することを禁じております。



な新薬の特許切れが相次いでいますが、患者数の多い分野での新薬の開発はますます困難になっているうえ、競合も激しくなっています。

このような背景から、創薬ベンチャーや専門メーカーのみならず大手医薬品メーカーが業績の維持・向上に向けて、ニッチながらも販売後は高い利益率を確保出来る希少疾患治療薬の開発と買収に注目ははじめました。政府側でもこの動きを後押しすべく、従来の支援策に加えてFDAの審査手続きを迅速化する法整備を行っています。

### 活発化する希少疾患治療薬への取り組み

医薬品メーカー側のニーズに政府による支援強化も相まって、希少疾患治療薬の承認件数は右肩上がり増加しており、2015年は21件と承認医薬品の約半分を占めました。2016年も承認件数は前年並

みの高水準で推移しています(図表2)。

また、希少疾患治療薬を対象とした買収案件は件数・金額ともに増加傾向にあり、2015年の米国における医薬品メーカーを対象とした買収案件では、金額上位5件のうち2件は希少疾患治療薬を開発した企業の買収でした。2016年も6月時点までで最大の買収案件は希少疾患治療薬が主なターゲットとなっています。なかにはFDAによる承認を受けていない赤字企業であっても将来性を見込んで巨額の資金で買収される事例もみられます。

### 今後の見通し

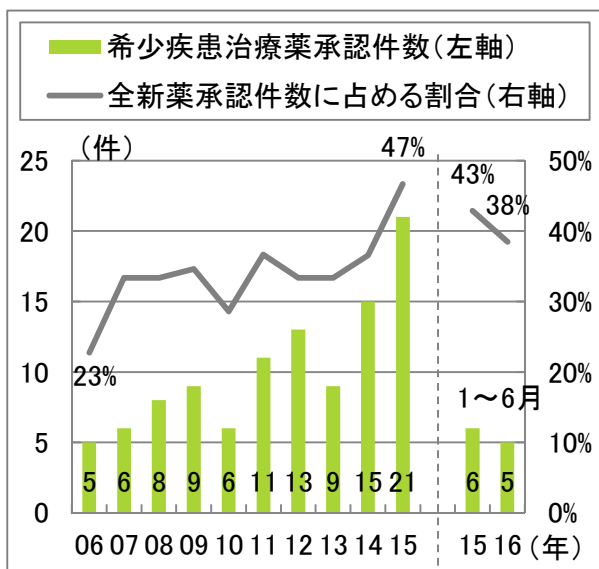
米国では一部の医薬品メーカーが度重なる薬価引き上げを通じて高い利益率を確保していることが明らかにされるなど、他の先進諸国と比べて高額な薬価に対する批判が強まっています。

しかしながら、希少疾患治療薬は当該疾患の数少ない治療薬であることが多い。うえ、それぞれの市場規模が小さく注目を集め難いことから、批判対象になりにくくなっています。

このため、希少疾患治療薬は今後も、高い収益性が期待出来る有望分野として、創薬ベンチャーや専門メーカーのみならず大手医薬品メーカーにより活発な新薬開発が進められるとみられます。また、これらを取り込もうとする大手医薬品メーカーによる買収のターゲットとなることが予想されるため、医薬品メーカー各社の動向には引き続き注目が集まります。

(長尾)

図表2 希少疾患薬承認件数(米国)



(資料) U.S. Food and Drug Administration (FDA) を基に弊行作成

本資料は、情報提供を目的に作成されたものであり、何らかの取引を誘引することを目的としたものではありません。本資料は、作成日時時点で弊行が一般に信頼できるとされる資料に基づいて作成されたものですが、情報の正確性・完全性を弊行で保証する性格のものではありません。また、本資料の情報の内容は、経済情勢等の変化により変更されることがありますので、ご了承ください。ご利用に際しては、お客さまご自身の判断にてお取扱いいただきますようお願い致します。本資料の一部または全部を、電子的または機械的な手段を問わず、無断での複製または転送等することを禁じております。