

日本のバイオベンチャーが 成功する条件とは

いちよし経済研究所 企業調査部 首席研究員

山崎 清一



1. 日本のバイオベンチャーの現状

(1) 見え始めた損益の改善

日本のバイオベンチャーが成果を見せ始めた。ソーせいグループの主力開発品である2つのCOPD（慢性閉塞性肺疾患）治療薬のうち、1つが2012年に、もう1つが2013年に、いずれも欧州と日本で承認された。これに伴い、2品の導出先であるNovartis社からマイルストーン（開発進展に伴う成功報酬）を受領し、営業キャッシュフローが2013.3期、

〈目次〉

1. 日本のバイオベンチャーの現状
2. バイオのビジネスモデル
3. 研究支援型のビジネス
4. 創業関連のビジネス
5. 事業としての再生医療の課題
6. 真の成長産業となるために

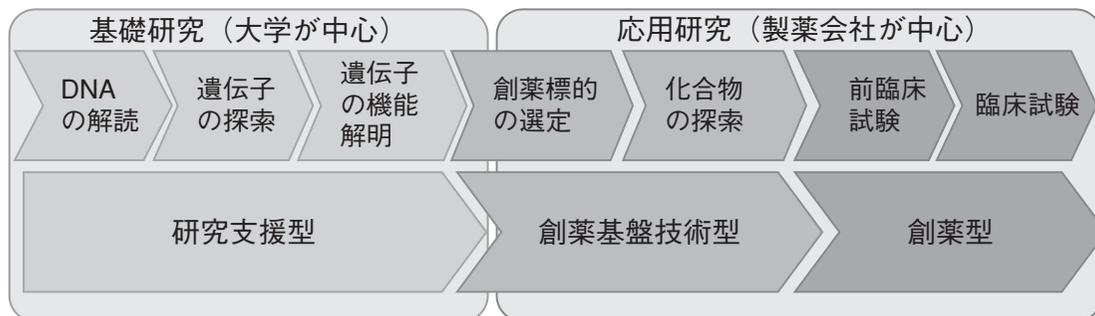
2014.3期ともに黒字となった。今年に残る主要市場の米国で、これらをNovartis社が承認申請する予定である。これに伴うマイルストーンやロイヤリティなどにより、2015.3期は経常損益でも黒字転換が見込まれる。

昨年6月に新規上場したペプチドリームは、2つの点で多くの機関投資家の関心を集めた。1つは独自の創業技術による複数の欧米大手製薬会社との契約である。Novartis社をはじめとする欧米大手製薬会社6社と契約しており、同社の世界レベルでの技術の優位性を強く印象付けた。もう1つは、上場直前の目論見書に記載されていた2013.6期第3四半期累計の経常損益の黒字である。これにより、赤字が当たり前という従来のバイオベンチャーとは一線を画す企業と認識された。

(2) ビジネスの種類によって異なる成功条件

損益の変化や開発の進展などから見て、日

(図表1) バイオベンチャーの主要な3つのビジネスモデル



(出所) いちよし経済研究所

本で先行するバイオベンチャーが新たな段階に進み始めたことは確かである。しかし、一方で事業が思うように立ち上がらず、相変わらず苦戦している企業もある。こうした違いはどこにあるのか、これを明らかにすることが今後の日本のバイオベンチャーの育成に欠かせない。

バイオベンチャーのビジネスは1つではない。いくつかの種類に分けられ、それによって成功の条件がまったく異なる。日本のバイオベンチャーは欧米に比べ歴史が浅く、ひとくくりで語られがちだが、個々のビジネスの違いを見ることが重要である。

2. バイオのビジネスモデル

(1) 主要な3つのビジネスモデル

バイオに関する研究は基礎から応用まで幅広く、バイオベンチャーのビジネスはさまざまな分野で展開されている。これらをバイオ先進国である米国での成功事例を基に整理す

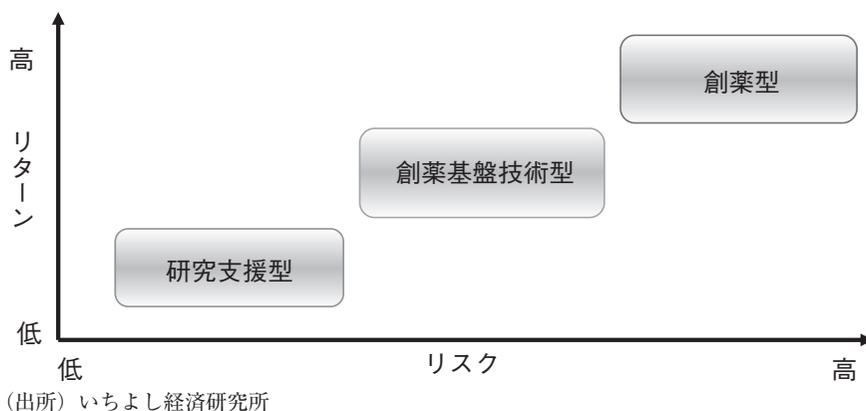
ると、基礎研究領域の「研究支援型」、応用領域の「創薬基盤技術型」及び「創薬型」の3つに分類できる(図表1)。なお、日本で話題の再生医療については本分類には適さないため、別途述べることにする。

(2) 最大の違いはリスクとリターン

基礎研究領域とは、遺伝子やタンパク質の働きの解明、iPS細胞を使った各種研究(iPS細胞の作製、各種細胞への誘導等)などを指し、主に大学や公的研究機関で行われる。それを支援するのが研究支援型である。大学などに研究用の試薬や機器の販売などを行い、その代金を受け取る。このビジネスはバイオ分野の製品を扱っているというだけで、通常の販売企業などと収入面での違いはない。

応用領域とは、大学などの研究で発見された病気の原因物質をもとに、医薬品などを生み出す研究を意味し、主に製薬会社で行われる。この領域のビジネスは2つに分けられる。1つが新薬を生み出す技術を製薬会社に提供

(図表2) 3つのバイオビジネスのリスクとリターンのイメージ



する創薬基盤技術型、もう1つが新薬候補物質そのものを製薬会社に提供する創薬型である。主な収入は、契約一時金、研究や開発に必要な支援金、マイルストーン、発売後のロイヤリティであり、他の産業とは収益構造が異なる。特に支援金以外は原価が発生せず、業績へのインパクトが大きい。

これらのビジネスの最大の違いは、リスクとリターンである(図表2)。成功した際に最も大きなリターンを得られるのが創薬型だが、その分リスクも大きい。その対極が研究支援型であり、創薬基盤技術型はこれらの中に位置する。

■ 3. 研究支援型のビジネス

(1) 研究支援型を中心にスタートした日本のバイオ

日本のバイオベンチャーの歴史は2000年前後から始まった。世界的な遺伝子解析ブーム

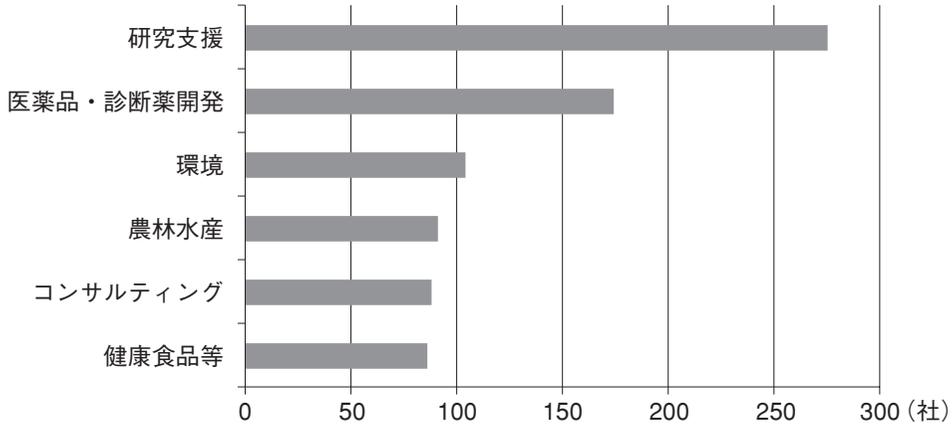
が火付け役となり、基礎研究支援から医薬品開発までさまざまな企業が設立された。当初は多額の投資を必要とする創薬型よりも、比較的参入が容易な研究支援型が圧倒的に多かった(図表3)。

日本では2000年に大型の国家プロジェクト「ミレニアム・ゲノム・プロジェクト」がスタートした。このおかげで、遺伝子解析関連などの研究支援型ビジネスが一時潤う時期があった。多額の資金が大学などに流れ、機器や試薬などを盛んに購入したからである。しかし2005年3月のプロジェクト終了とともに需要が激減し、研究支援型ベンチャーの多くが苦境に立たされた。

(2) 事例に見る研究支援型の成功の鍵

研究支援型の中にもわずかだが、健闘している企業がある。その代表がプレジジョン・システム・サイエンス(以下「PSS」)である。同社は磁性粒子を用いた独自の制御技術を開

(図表3) 日本のバイオベンチャー531社の主な事業領域と企業数(2005年)



(出所) バイオインダストリー協会調査(重複回答あり)をもとに、いちよし経済研究所作成

発し、これを応用したDNA自動抽出装置(細胞からDNAを自動的に取り出す装置)で事業を展開している。

2009.6期に経常損益の黒字化を果たし、2010.6期には配当まで実施した。その後、需要の反動減で業績が低迷したが、2013.6期は製品需要の回復と投資有価証券売却益の計上により純損益が黒字となり、再び配当を行った。研究支援型の多くが苦戦する中で同社がこれだけ健闘しているのは、世界の有力企業との提携を実現し、同社製品を世界で5割以上のシェアをもつスタンダードにすることができたからである。2013.6期の同社売上高は約8割が欧米向けであり、そのほとんどがRocheグループ及びQiagenグループを中心とするOEM先向けとなっている。こうした提携を実現できたのは、優れた技術を生み出し、その世界的な特許を押さえたことによるものである。

(3) 研究支援型の成功の条件はグローバル展開

昨今、研究支援型ではiPS細胞研究に関する支援ビジネス(研究用試薬の提供等)が話題となっている。マスコミが盛んに取り上げている状況は、かつての遺伝子解析ビジネスの時と同様である。しかし、これがビジネスとして成功するかどうかはグローバル展開次第といえよう。国内のiPS細胞の研究用試薬の市場は10億円程度にすぎず、この20倍程度は見込める世界市場を狙わなければ本格的なビジネスになりえない。しかも、そこでスタンダードの地位を確保しなければ成功は難しい。大学の研究者はブランドを重視する傾向が強いからである。それには、まず最大の市場である米国を押さえなければならず、PSSの事例のように欧米に強い販路をもつ有力企業と提携し市場を一気に攻める必要がある。こうした戦略を実行できるかどうか、成否

を決める重要なポイントといえよう。

■ 4. 創薬関連のビジネス

(1) 創薬関連の成功の条件は提携

新薬開発には多額の投資が必要であり、創薬関連ベンチャー（創薬型及び創薬基盤技術型）のビジネスは製薬会社との提携が基本となる。しかし、それは容易にできるものではない。通常は交渉に1年以上を要し、それでも提携に至らないケースのほうが圧倒的に多い。提携金額（契約一時金とマイルストーンの合計）が通常、数十億円～数百億円になるため、自社にない有用な技術と認めない限り製薬会社は契約に応じない。その意味で、製薬会社と提携ができていて自体が価値であり、これが創薬関連ベンチャーの成功の条件にほかならない。

(2) 製薬会社との提携は損益と開発費にメリット

ソーせいグループはNVA237及びQVA149の2つのCOPD治療薬でNovartis社と提携している。この提携はNVA237を第2相臨床試験段階で導出したところから始まる。Novartis社はその開発を単剤として継続すると同時に、Novartis社が開発した別のメカニズムをもつCOPD治療薬との配合剤QVA149としての開発も進めることになった。その結果、ソーせいグループはNVA237のみならずQVA149に対する収益を受領する権利を確保

し、その後の開発費もNovartis社が負担した。この事例のように、製薬会社との提携はバイオベンチャーに損益と開発費負担軽減のメリットをもたらす。

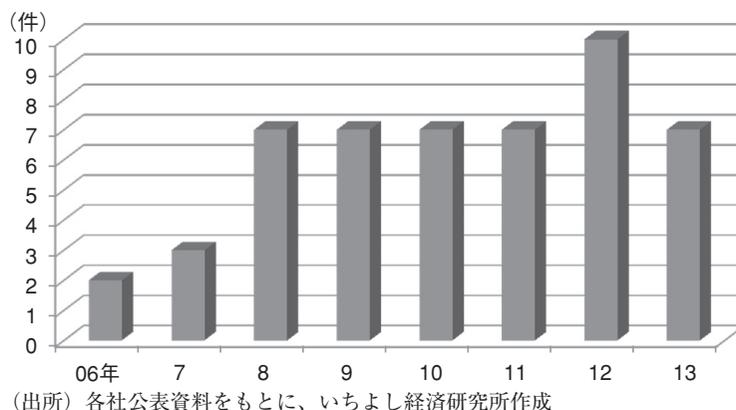
(3) 創薬関連ビジネスの環境が好転

創薬関連ベンチャーを取り巻く環境が大きく好転している。製薬会社との提携件数が2008年から増加し、昨年も高水準を維持した（図表4）。自前主義の新薬開発を貫いてきた世界の製薬会社が、外部の資源を積極的に活用する方針へ転換したことによるものである。これを促した主な要因は、「2010年問題」とバイオ医薬品の台頭である。

2010年問題とは、世界の大手製薬会社の年間売上高1,000億円を超える大型医薬品の多くが、米国で特許切れを迎えた問題のことをいう。米国では特許が切れると劇的にジェネリック医薬品に置き換わり、売上が激減してしまう。これをカバーするために、外部から新薬候補を獲得する必要が生じた。

そうした中で、製薬会社の関心を集めたのがバイオ医薬品である。タンパク質などの生体物質を利用した医薬品のことをいい、化学合成で作られる従来からの医薬品（＝低分子医薬品）とは異なる。これが近年、急速に勢力を伸ばしている。世界の売上高トップ10の医薬品に占めるバイオ医薬品の品目数の割合が2000年代後半以降に高まり、2012年は7割を占めた。低分子医薬品は製薬会社が得意とする領域だが、バイオ医薬品はバイオベンチ

(図表4) 日本の創薬関連ベンチャーと製薬会社との提携件数推移



ャーが優位である。製薬会社はこの技術を獲得するために、買収や提携を積極的に進めている。

(4) 質が向上した創薬関連ベンチャーの契約

創薬関連ベンチャーの契約内容の質が向上している。創薬型の大型契約が2010年から2011年にかけて増加したのに続き、最近では創薬基盤技術型の飛躍が目立つ。

ペプチドリームは独自の特殊ペプチド創薬技術(新たな創薬技術として期待される「特殊ペプチド医薬」を生み出す技術)で、欧米大手6社を含む8社の製薬会社と契約している。これだけの数の欧米大手製薬会社と契約していること自体、驚くべきことだが、その契約内容も注目に値する。同社の契約は製薬会社から新薬の標的となる物質を預かり、それに対する新薬候補物質(特殊ペプチド)を提供するというものである。新薬候補物質を

見つけるまでの段階で、同社は契約一時金、研究開発支援金を受領する。そうして見出された新薬候補物質の開発を製薬会社が進めるには、同社に創薬開発権利金を支払い、ライセンスを受ける必要がある。この段階での新薬候補物質の権利が同社に帰属するためである。その後も、開発の進展に伴うマイルストーン、発売後のロイヤリティを製薬会社から受領することができる。こうした契約を可能にしているのは、技術の魅力はもとより、世界的な特許戦略の成果でもある。

同社の場合、契約一時金からマイルストーンまで、標準的な契約であれば40億円前後の規模になる。欧米ではこうした契約は当たり前だが、日本のバイオベンチャーの創薬基盤技術による契約は、これまで年間数千万円の受託手数料を受け取るものが大半だった。日本のバイオベンチャーも、創薬基盤技術で世界標準と呼べる内容の契約を締結する実力をつけてきたといえよう。

■ 5. 事業としての再生医療の課題

(1) ビジネスとしての課題が残る再生医療

再生医療とは、患者本人などの細胞から組織や臓器を作り出し、体の損傷した部分を修復・再生する治療法である。日本ではこれが話題になりやすい。試薬や容器を使って細胞を培養し、それを加工するなど、日本が強みとする「もの作り」技術がベースとなっていることや、iPS細胞の応用分野という事情などによるものと考えられる。しかし、再生医療はサイエンスとしては興味深い、ビジネスとして見た場合には解決すべき課題がある。

(2) 盛り上がり欠ける現状の再生医療ビジネス

再生医療の実用化は、1987年に米国で商品化された自家培養表皮が第一号である。その後も世界で皮膚関連や軟骨の商品化が続いている。日本でもジャパン・ティッシュ・エンジニアリングの自家培養表皮が2007年に、自家培養軟骨が2012年に承認された。最初の商品が登場してから20年以上経つが、世界の再生医療製品の市場は1,000億円にも満たないと推測される。ほぼ同時期に実用化された抗体医薬（バイオ医薬品の一種で、免疫力の中核物質の抗体を利用した医薬品）の約4兆円に比べ、40分の1以下の規模である。

バイオビジネス先進国の米国では、あらゆる技術の事業化が試される。しかし、今も再

生医療ビジネスで大きな成功を収めた企業の話は聞かない。最も有望視された企業にGeron社がある。iPS細胞と同じように万能性をもつES細胞（発生初期の胚由来の細胞）による再生医療製品の開発を行っていた。Geron社は脊髄損傷の治療を目的としたES細胞の臨床試験を2010年に開始したが、2011年に中断し、事業売却を発表した。製造コストなどの問題でビジネス化が困難と判断したためとされる。iPS細胞は人工的にES細胞を模倣した細胞として作製されたものである。ES細胞はiPS細胞より9年も前から研究されており、iPS細胞の再生医療への応用を進める上での先事例となるものだが、米国でもまだビジネスとしては立ち上がっていない。

(3) コストの低下や製品の一段の進化が課題

再生医療が本格的なビジネスになるには、いくつかの課題をクリアする必要がある。1つはコストの問題である。製造に手間がかかる上に、がん化のリスクに対応するための品質管理の問題などもある。効率的なビジネスを実現するには、製造工程や品質評価に関する技術革新が求められる。

もう1つは再生医療製品の一段の進化である。皮膚や軟骨などの構造的な機能を利用した製品にとどまらず、細胞から分泌される成長因子などを利用し損傷部位の修復・再生を促すような、より医薬品に近い製品の開発などが求められる。医薬品に近づくほど、臨床

試験期間の長期化や費用の増大などが想定されるが、再生医療ならではの治療領域を確立することが先決といえよう。

■ 6. 真の成長産業となるために

(1) 機関投資家がバイオ株投資に本格参加

これまでバイオベンチャー株という実体を伴わない材料株の色彩が強く、売買の大半は個人投資家によるものだった。しかし昨今は機関投資家が本格的に参加し始めている。開発の進展や提携の増加などで、損益向上を期待できる企業が増えたためである。

こうした投資家層の広がりは、バイオベンチャーにさまざまな恩恵をもたらしている。2013年の新規上場社数は2011年と並ぶ過去最高の5社となり、2013年末時点の上場社数は33社となった。既上場企業の資金調達にも変化が見られ、2013年は100億円前後の公募増資に成功する企業が目立った。このような状況を一段と活発化させることが、バイオ産業育成に欠かせない。そのためには、投資家の期待に応える成果をバイオベンチャーが数多く示す必要がある。

(2) 過去の教訓を活かしたバイオ産業育成が重要

バイオ産業の育成が安倍政権の成長戦略の柱の1つとなった。既存産業だけでは今後の経済成長が難しくなり、新産業の創造が求められているからである。こうした中でその中

核として期待されるバイオベンチャーは、真の成長企業を目指す戦略を遂行しなければならない。

幸い、日本のバイオベンチャーも10数年の経験の蓄積ができた。かつての遺伝子解析ブーム時の失敗を繰り返さないよう、この教訓を活かすことが重要である。バイオベンチャーのビジネスはさまざまだが、1つ明確になったのは、有力企業との提携が成功のカギを握るということである。それは創薬関連のみならず、研究支援型にも当てはまる。創薬関連は製薬会社との提携がビジネスの基本だが、研究支援型も世界展開を実現するにはグローバル企業との提携がなければ難しい。

有力企業と提携し、真の成長企業を目指すために、魅力ある技術とそれを守る世界的な特許戦略が一層重要となろう。

