

Keeping the Promise:

医療研究と製品開発の新時代における医薬品開発パートナーシップの役割



PDP連携機関からの 新たな報告書には、 重要な近年の成果と 継続的な成功の鍵と なる要因が詳述され ています

- PDP製品とイノベーションは、未だ満たされていないニーズに対応することで健康状態を改善し、命を救ってきました。
- PDPへの投資は、グローバル開発と公衆衛生への備えを推進する費用対効果の高い方法です。
- PDPの約束を完全に実現するには、投資を増やし、政治的意志が強まらなくてはなりません。

DNDi
Drugs for Neglected Diseases initiative

FIND
Because diagnosis matters



 **IVCC** Building Partnerships
Creating Solutions
Saving Lives
 **INTERNATIONAL
PARTNERSHIP FOR
MICROBICIDES**



MMV
Medicines for Malaria Venture


Medicines Development
for Global Health

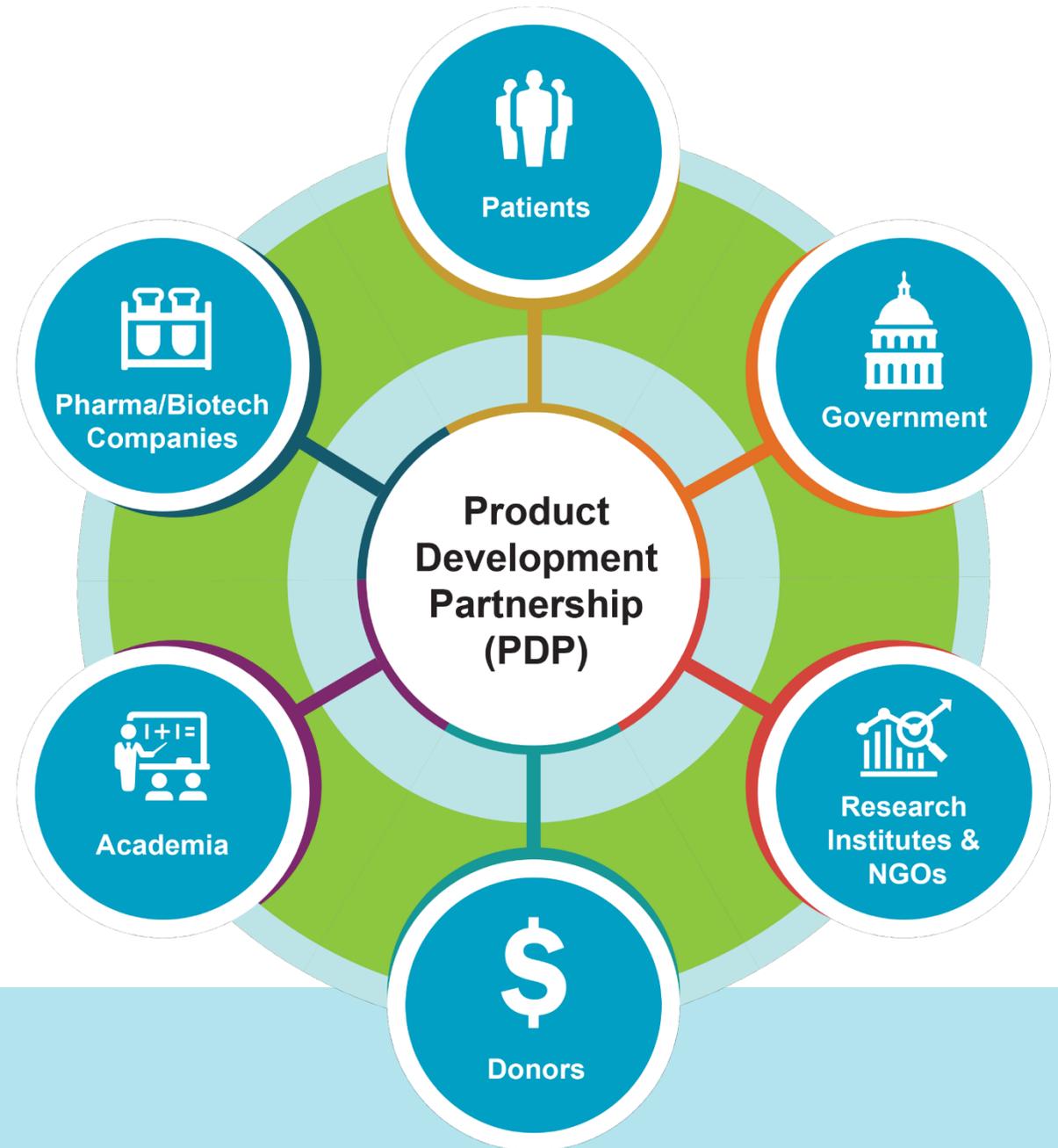
 **TB Alliance**

PATH




PDPのしくみ

医薬品開発パートナーシップ（PDP）は、従来の市場では十分なサービスを受けられず、病気や健康上の脅威に苦しむ人々のための新製品を開発します。これは、官庁、民間、学术界、慈善団体というセクター間のパートナーシップを構築することによって達成されます。



PDPモデル 、歴史、影 響、将来の 可能性に関 する10項目

PDP products and innovation have improved health and saved lives by addressing unmet needs:

1

PDPs are the global leaders in developing new health technologies where lack of traditional market incentives have stalled progress.

2

PDP pipelines are robust and poised to deliver a significant number of innovative technologies in the near-term.

3

PDPs achieve impact by developing products appropriate for the people and contexts in which they will be used.

Investing in PDPs is a cost-effective way to drive global development and public health preparedness:

4

PDPs save money and are a cost-effective way to save lives and grow economies.

5

PDPs build local capacity to perform research and strengthen health systems.

6

The products that PDPs develop are essential to achieve universal health coverage and the United Nations 2030 Sustainable Development Goals.

7

PDPs are equipped to help prevent and respond to urgent emerging and future health threats.

Increased investment and political will is needed to realize the full promise of PDPs:

8

PDPs need sustained, diverse, and flexible funding to increase their impact on global health and development.

9

Regulatory harmonization is needed to accelerate the global availability of PDP-developed products.

10

Increased investment and cross-sector collaboration are needed to ensure the widespread adoption, delivery, and implementation of new health technologies.

1. PDPは、従来の市場インセンティブの欠如により進歩が遅れてきた医療技術を、新たに開発するグローバルリーダーです

- 2010年以来、このPDP連携機関は、治療、ワクチン、診断、ベクトル制御、医療機器など、66の新しい医療技術を提供してきました。
- 製品は主に低中所得国で24億人以上により使用されています。
- 主なハイライト：
 - 薬剤耐性の高い結核の治療薬として承認された初の薬剤
 - 三日熱マラリアの再発を防ぐ単回投与治療
 - あらゆる段階における睡眠病のための初の全経口治療
- 進歩は、投資とイノベーションが長い間停滞している貧困の病に集中しています。市場の力ではこれらの分野でのイノベーションは推進されません。

PDPはイノベーションを実現します

多くのPDPが今世紀の変わり目に設立されました。ここ10年間は、以前の投資の成果が上がっています。

報告書で取り上げられているPDPによって開発および販売された製品



2. PDPパイプラインは強力で、今後、短期間に数多くの革新的テクノロジーを提供する体制が整っています

- 報告書で取り上げられているPDPには、そのパイプラインに375を超える潜在的な新技術があります。
 - これらの製品の約25%は後期開発段階にあります。
- 製品ポートフォリオは、セクターや地域を越えた多様なパートナーシップを通じて構築されます。
- 開発中の製品は、女性や子供に発症が著しく偏っている病気を含め、世界で最も古く、致死率の高い病気に影響を与えるものです。

報告書で取り上げられているPDPには、そのパイプラインに

375

を超える潜在的な新技術があります。



3. PDPは、 利用者と状況に 適した製品 を開発し、影響 を与えます

- PDPは、製品が最も必要とされる現場での使用に適した設計ができるよう、地域コミュニティー、医療従事者、研究者および政策立案者と密接に連携しています。
- リソースの少ない現場でも使えるようにすることが最優先です。
- これは、PDP開発製品が、広く公平に人々の手に渡るようにするための最初のステップです。

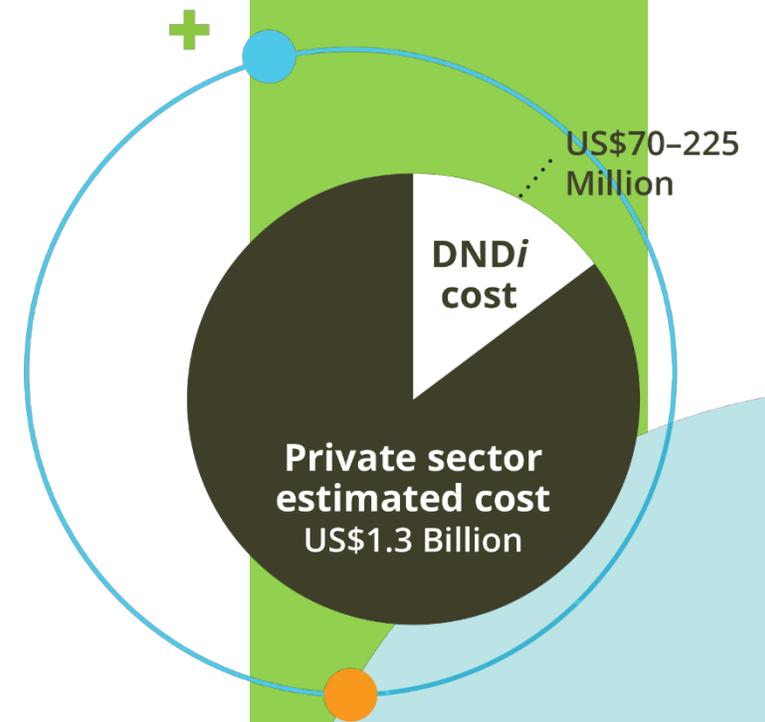
報告書で取り上げられたPDPによって開発された製品は、世界中で24億人以上の人々に使用されています。



4. PDPはコストを抑え、人命を救い、経済を成長させる費用対効果の高い方法です

- PDP開発製品は、費用に対する膨大な価値と強力な投資収益率を提供します。
- PDPは一貫して民間セクターよりも低いコストで製品を開発することができます。
- PDPは、複数の資金源からの資金をプールして活用することにより、複数の投資家や研究プログラムにリスクを分散させます。

DNDIによる新規化学物質の研究開発の全コスト：
7,000万～2億
2,500万ドル
新規化学物質を市場に出す民間セクターの推定コスト：
13億ドル*



5. PDPは、地域が研究を行い、医療システムを強化する能力を構築します

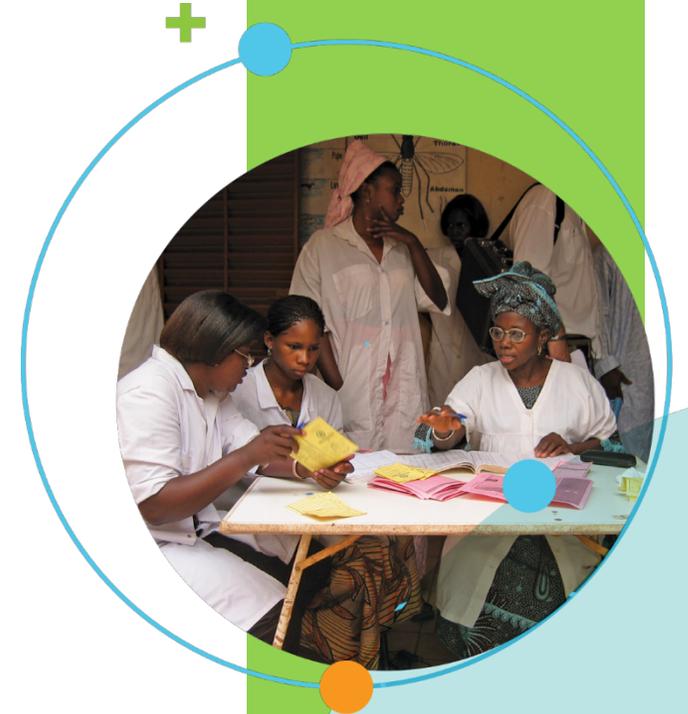
- PDPは、主に低中所得国80か国以上、550以上の現場での研究パートナーシップを通じて科学的能力を構築してきました。
- PDPは、これらの国々で次のような開発に取り組み、持続可能な研究能力を構築します。
 - パートナーシップ
 - トレーニングプログラム
 - インフラの改善
 - 次世代の研究者、疾病専門家および科学会のリーダー
- 新型コロナウイルスと戦うために現在運用されている低中所得国のインフラは、以前のPDP共同研究を通じて大幅に開発が進みました。
- PDP製品は、多くの場合、より速く、より簡単な治療と診断、予防医学で、医療システムへの負担を軽減します。

PDPが研究パートナーシップを通じて能力を構築した国



6. PDPが開発する製品は、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジと国連の2030年に向けた持続可能な開発目標の達成に不可欠です

- PDPのポートフォリオにある製品の開発は、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジと、以下のような国連の持続可能な開発目標の達成に必要です。
 - **SDG No.1** : あらゆる形態の貧困に終止符を打つ
 - **SDG No.3** : あらゆる年齢のすべて人々の健康的な生活を確保し、福祉を推進する
 - **SDG No.5** : ジェンダーの平等を達成し、すべての女性と女児のエンパワーメントを図る
 - **SDG No.8** : すべての人々のための持続的、包摂的かつ持続可能な経済成長、生産的な完全雇用およびディーセント・ワークを促進する
 - **SDG No.10** : 国内および国家間の不平等を是正する
 - **SDG No.17** : 持続可能な開発に向けて実施手段を強化し、グローバル・パートナーシップを活性化する



7. PDPは、現在および将来において差し迫る健康上の脅威に対し、予防と対応を支援する準備が整っています

- PDPの能力は、貧困の病だけに限定されません。
- PDPは、新型コロナウイルスのパンデミックに対する世界的な対応に貢献するため、以下のような活動をしています。
 - ワクチンおよび単クローン抗体候補の開発
 - SARS-CoV-2に対する潜在的な有効性試験のための化学ライブラリーの提供
 - 新型コロナウイルスの製品研究を支援する創薬技術の適用
 - アフリカでの大規模なアダプティブ・プラットフォーム臨床試験の段階分け
 - リソースが限られた状況でのニーズを満たす新型コロナウイルスの検査、治療、ワクチンを、迅速に開発・生産し、広く公平に入手できるように、新しいパートナーシップを招集
- PDPは、以下のような迫り来る健康上の脅威に対処するため、製品や連携も高めています。
 - 抗菌薬耐性
 - パンデミックへの備え



8. PDPは、
グローバルな健康と
開発への影響を高め
るために、持続的で
多様性があり柔軟な
資金調達を必要
としています

- PDPには、研究プロセスのあらゆる段階で、安定かつ長期的な資金と投資が必要です。理想的な資金調達状況とは、以下の特徴があるものを指します。
 - BRICSや低中所得国を含む、政府による投資の増加
 - 最も有望なプログラムに優先順位を付けるため、パイプライン間で資金をシフトする独立性
 - 革新的な資金調達メカニズムの多様な手段（押しと引きの両方）
 - 民間セクターの関与と投資の増加



9. PDPで開発された製品がより早く世界中で使用されるには、規制調和が必要です

- 新製品の承認をグローバルに獲得しようとするとき、そのプロセスに一貫性がなく、複雑で時間がかかると、健康への新しい解決策を広く公平に行き渡らせることが難しくなります。
- 規制の障壁を緩和することで、健康への影響がより迅速かつ大きくなり、投資収益率は向上します。
- 規制プロセスを合理化および調和させるために、国と地域が取り組むことで、命を救う新しい医療技術を迅速に普及させることができます。
 - たとえば、国際エイズワクチン推進構想と東アフリカ保険研究委員会（EAHRC）は、研究倫理審査プロセスの標準化に向けて協力し、ケニア、ウガンダ、ザンビアで試験の安全性を確保し、国際エイズワクチン推進構想が後援するプロトコルの承認時間は30%短縮されました。



10. 新しい医療技術が、確実に広く採用、提供、導入されるためには、投資の増加とセクター間の協力が必要です

- 健康への影響を達成するには、一貫したアプローチが必要で、新製品はそれを必要とする人々の手元に届いて初めて、影響を及ぼします。
- 新製品は、手頃な価格で、迅速に入手でき、広く公平にアクセスできなくてはなりません。
- 製造、市場競争、手頃な価格、予測、医療従事者のトレーニングにおいて、取り組むべき課題があります。
- 新製品へのアクセスを加速・拡大するには、献身的な投資と独創的なマルチセクターのパートナーシップが必要です。
- これまで以上に多くの製品が市場に出で来るようになったため、人々の手に渡るようにすることは、ますます重要な急務となっています。



十分な資金、十分な政治的意志、さまざまなセクションにわたるパートナーシップを用いて、PDPにできること：

- さらに何百万もの命を救う可能性のある医療技術への公平かつグローバルなアクセスを、継続的に開発・促進する
- 数十億人を貧困から救う手助けをする
- グローバル医療保障を向上させる

ケーススタディ

TB Alliance : 最も死者の多い結核の治療に承認された新結核薬

- 結核は世界で最も致命的な感染症であり、年間140万人が死亡しています。
- 薬剤耐性は増えています。広範囲にわたる薬剤耐性結核（XDR-TB）は非常に致命的であり、治療が困難です。
- 以前の治療は、18か月に渡り、注射と14,000以上の錠剤の投与が含まれていました。
- TB Allianceは、6か月の新しい完全経口治療を開発しました。これは、米国FDA、欧州委員会、インド医薬品規制当局によって承認されています。
- マッキンゼーの投資事例研究によると、新しい治療法により、有効な治療のコストは65～80%削減され、現在から2023年までの医療システムが7～11億米ドル節約されると予測されています。



DNDi : 睡眠病のあらゆる段階における初の完全経口治療法の開発

DNDi

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

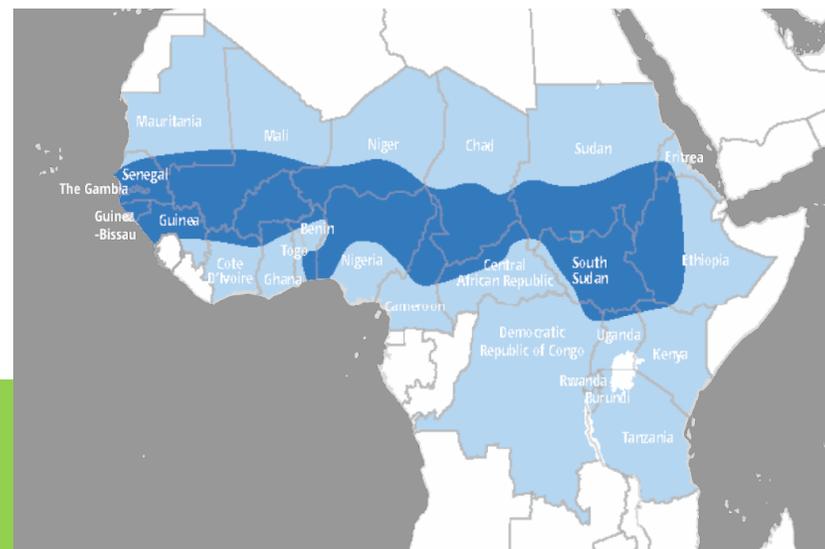
- アフリカ睡眠病は主にアフリカの最も貧しい地域で発生し、850万人が危険にさらされています。通常、治療しなければ死に至る病です。
- 10年ほど前は、睡眠病に利用できる唯一の治療法は、ヒ素化合物であるメラルソプロールであり、これにより20人に1人の患者が死亡していました。
- 2009年、DNDiとパートナーはNECTを開発しました。毒性は少ないものの、複雑で、出荷・保管が難しく、入院が必要です。
- 2018年、DNDiとサノフィはフェキシニダゾールを開発しました。これは、10日間の完全経口治療で、最も一般的な形態の睡眠病（*T.b. gambiense*（ガンビアトリパノソーマ））に対する治療法です。
- DNDiと国家管理プログラムとの試験およびスクリーニングのためのパートナーシップは、国の疾病管理および睡眠病の有病率のより良い理解に大きく貢献しました。
- フェキシニダゾールは2018年に欧州
経口治療は、疾病管理を根本的に追加さ
す。WHOは、必須医薬品リストを追加さ
す。変え、世界的に持続可能な撲滅の
取り組みを支援します。



PATH：アフリカの髄膜炎地帯の大部分で実質的に撲滅された髄膜炎専用開発された初のワクチン



- 髄膜炎は、脳と脊髄を覆っている薄い膜に影響を及ぼします。アフリカでは、エピデミックの80%以上が髄膜炎菌グループAによって引き起こされています。
- 治療をしない場合、感染者の50パーセントが数日以内に死に至る可能性があります。命をとりとめた者でも、生涯にわたって重度の障害に苦しむことも少なくありません。
- 2001年、PATHとWHOは髄膜炎ワクチンプロジェクト（MVP）を結成しました。PATHとパートナーは協力して、記録的な速さで新しいグループA髄膜炎ワクチンを開発しました。
- MenAfriVac®は、特にアフリカの髄膜炎のために開発された初のワクチンでした。低コストで、コールドチェーン外に配送できます。
- 2019年末までに、MenAfriVac®は26の「髄膜炎地帯」の国のうち24か国の約3億4,000万人に届けられ、使用された場所では髄膜炎Aを事実上撲滅しました。



MMV：単回投与によるマラリア再発の予防



- 三日熱マラリア原虫は、年間590万から710万の臨床感染症を引き起こします。南北アメリカでは、マラリア症例の75%以上を占めています。
- この形態のマラリアは肝臓に潜伏する場合があります、最初の感染から数週間、数か月、さらには数年後に再活性化し、周期的で衰弱性の再発につながる可能性があります。
- この再発性のため、三日熱マラリアの人的および経済的コストは高くなります。
- 以前は、再発防止に利用できる唯一の治療法はプリマキンでしたが、治療期間が長くなるとコンプライアンスの問題が発生します。
- MMVとGSKは、タフェノキン (Kozenis/Krintafel) を開発し、販売承認を取得しました。これは、60年以上ぶりの再発予防の新しい治療法であり、病気の徴候に対する初の単回投与治療薬です。
- MMVはパートナーと積極的に協力し、三日熱マラリア原虫治療へのアクセスを拡大し、各国の撲滅目標に向けた進展を加速させています。



MDGH：革新的な資金調達により、モキシデクチンの開発が可能になり、社会的影響力のある投資家に利益をもたらします

Medicines Development
for Global Health

- モキシデクチンは、2018年に米国FDAによって「河川盲目症」向け薬品として承認されました。また、リンパ系フィラリア症、土壌伝染性蠕虫、ストロングロイデス、および疥癬向けに開発されています。15億人以上の人々がモキシデクチンで治療できる可能性のある病気に苦しんでいます。
- MDGHは2014年にWHOからモキシデクチンの認可を得ました。MDGHは規制当局への申請の唯一のスポンサーでしたが、TDRおよび規制科学者とのパートナーシップは重要でした。
- MDGHは、わずか6人のチームで登録を完了しました。
- MDGHは、FDAの優先審査バウチャー（PRV）制度を活用して、社会的影響力のある投資家から資金を調達し、製品の開発と登録を支援しました。これは、PDPと協働すると、社会的影響力のある投資の力で、経済的・人道的な投資収益率が生まれることを示しています。



FIND : C型肝炎の自己検査キットを使えば、検査範囲が容易に拡大する可能性があります

- UNITAIDとオランダ政府の支援を受け、FINDとDNDiはマレーシア保健省と提携し、C型肝炎（HCV）の診断を、特にHIV陽性者の間で、より手頃な価格で広く利用できるようにしました。このプログラムはヘッドスタートとして知られています。
- ヘッドスタート以前は、診断ツールは高価で時間がかかるものでした。マレーシアでのスクリーニングは通常6か月かかりました。
- ヘッドスタートは、プライマリヘルスセンターで結果が15分でわかるHCV即時診断試験を導入しました。
- FINDとマレーシア臨床研究（CRM）は、HCV診断をさらに簡素化および拡大するための取り組みを続けています。WHOの事前承認を取得するための取り組みは継続中です。

FIND 
Because diagnosis matters



IVI：手ごろな価格の 経口コレラワクチン は発生時の対処を超 えるものであり、大 規模な防止を可能に します



International
Vaccine
Institute

- コレラは年間250万人以上に影響を及ぼし、10万人近くが死亡しています。
- 経口コレラワクチン（OCV）は2001年から利用可能になりましたが、費用がかかるため、流行国で広く使用することはできませんでした。商業的インセンティブの欠如により、新しいコレラワクチンの開発は停滞していました。
- これに応え、IVIは韓国のバイオベンチャー企業であるEuBiologicsと提携し、Euvichol[®]およびEuvichol-Plus[®]（低コストのOCV）を開発しました。IVIはワクチン製造のトレーニングも行いました。
- IVIは、わずか1,970万ドルの開発費で、7年かからずEuvichol[®]およびEuvichol-Plus[®]のWHO事前承認を取得しました。
- 2019年11月時点で、4,200万回以上のEuvichol[®]およびEuvichol-Plus[®]が世界的で扱われている。
- OCVを世界規模で蓄えたおかげで、大規模な予防キャンペーンが可能になりました。

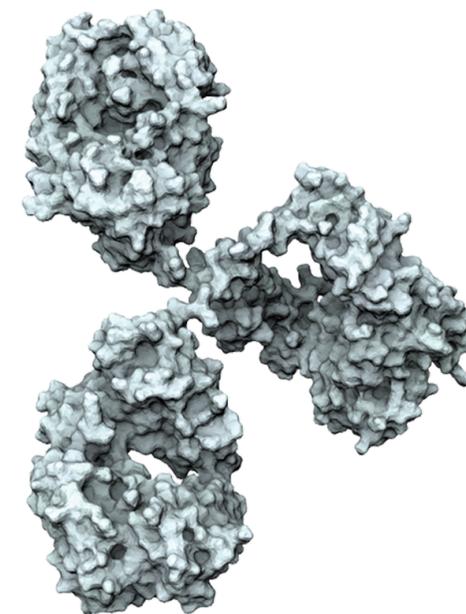


IAVI：最先端のHIV研究を適用し、新型コロナウイルスを含む多くの疾患に対する新しく手頃な予防と治療およびモダリティを開発します



Translating science into
global health impact

- ドナーの投資と広範なパートナーネットワークにより、広域中和抗体（bnAbs）が発見されました。HIVを予防し、治癒の可能性をもたらす有望な戦略となります。臨床試験は2021年に開始される予定です。
- IAVIはまた、抗体機能を利用し、新型コロナウイルス、ヘビ咬傷、薬剤耐性感染症と戦う安価で世界的に入手可能な抗体を開発しています。
- 並行して、IAVIは、HIV用に開発されたウイルスベクトル技術を新興感染症のワクチンに適用しています。これには、メルク・アンド・カンパニー（米国）と共同で治験中の新型コロナウイルスワクチンが含まれます。
- こういった進歩は、研究者、製品開発者、資金提供者の間の独自のパートナーシップを促進するIAVIのPDPモデルによって可能になります。



IPM：ダピビリンリングはサハラ以南のアフリカの女性に対し初の長時間作用型HIV予防という選択肢を提供します



INTERNATIONAL
PARTNERSHIP FOR
MICROBICIDES

- サハラ以南のアフリカでは、毎日1,400人近くの女性がHIVに感染しています。コンドームやPrEPとして知られる毎日の経口抗レトロウイルス（ARV）ピルなどの既存のHIV予防ツールは不可欠ですが、すべての女性がそれらを使用しているわけではありません。
- IPMは、HIV予防の新しい方法に対する女性の未だ満たされていないニーズに対処するため、初の長時間作用型HIV予防製品であるダピビリンリングを開発しました。
- 欧州医薬品庁から肯定的な意見を受け取り、国内の規制当局の承認を促進しました。アフリカの国家規制当局と米国FDAへの申請が進められています。
- 規制当局の承認を待ち、調達決定を容易にするWHOの事前承認を取得しました。
- ダピビリンリングは、2つの第III相試験で女性のHIVリスクを35%および27%減少させました。安全上の懸念はありません。



IVCC：デュアルアクティブ成分の蚊帳は殺虫剤耐性と戦い、マラリアに対する激しい戦いの進展を維持するのに役立ちます



- WHOは、主にサハラ以南のアフリカで、2019年に2億2,900万のマラリア症例と40万9,000人の死亡を報告しています。
- 長期持続型殺虫ネット（LLIN）や屋内残留噴霧（IRS）などのベクトル制御ツールは、今世紀の変わり目からマラリアの症例を半減させるのに役立ちましたが、最も一般的に使用される殺虫剤であるピレスロイドに対する耐性は、これらのツールの将来の有効性に対する真の脅威を提示しています。
- IVCCは、資金提供者や業界パートナーと協力し、LLINとIRSで使用できる新しい殺虫剤を開発しています。
- ニュー・ネット・プロジェクトの一環として、IVCCは2つのデュアルアクティブ成分の蚊帳の導入を支援しています。BASFのInterceptor G2®およびRoyal Guard®を10の流行国に導入しています。
- ランダム化比較試験と試験的な蚊帳導入の組み合わせにより、デュアルアクティブ成分の蚊帳の将来的な導入を最適化するのに役立つ効果と試用から得た知識と共に、WHOに有効エビデンスをもたらすでしょう。



EVI : 貧困の病気と闘うための強力なワクチンポートフォリオの維持



EUROPEAN VACCINE INITIATIVE

- 予防接種は非常に成功し、費用対効果の高い保健介入ですが、ワクチンの開発には時間がかかり、困難です。
- EVIは、マラリア、リーシュマニア症、下痢性疾患、新興感染症など、さまざまな疾患・病原体に対する約40種類のワクチン候補の開発を支援してきました。
- EVIは現在、内臓リーシュマニア症（VL：カラ・アザール）およびカラ・アザールの治療後の皮膚疾患であるカラアザール後皮膚リーシュマニア症（PKDL）のワクチンとしてChAd63-KHを検証しています。
- リーシュマニア症は、ほぼ100か国に存在する貧困関連疾患であり、年間70万から100万の症例を占めています。
- 現在、いかなる形態のヒトリーシュマニア症に対してもワクチンは認可されていません。
- ChAd63-KHは現在、第IIB相の臨床開発段階にあります。



TBVI：世界で最も致命的な感染症を予防するためのワクチンの追求



- 結核は世界で最も致命的な感染症であり、毎年140万人が亡くなっています。
- 今日使用されている結核に対する唯一のワクチンであるカルメット・ゲラン桿菌（BCG）は、出生時に投与され、成人に最も一般的で感染性のある肺結核の予防には効果がありません。
- 新しい結核ワクチン候補の世界的な製品ポートフォリオは、過去20年間でPDPによって大幅に進歩しました。
- TBVIは、2021年に第III相試験が予定されているMTBVACを含め、複数の結核ワクチン候補を支援しています。試験が成功すれば、MTBVACは早くも2026年に乳児向けに、2028～30年までに成人向けに、市場に出る可能性があります。
- MTBVAC開発支援は、複数の公的資金提供者および財団から提供されており、研究パートナーは、大学、業界、研究機関に及んでいます。

PROGRESS IN TUBERCULOSIS VACCINE R&D GLOBAL PIPELINE OVERVIEW

2000: EMERGENCE OF PDPS

- Global pipeline is bare

2010: PDP PIPELINES ARE MATURING

- 18 total vaccine candidates
- More than 2/3 are Phase 1 or earlier stage
- Half of all candidates are PDP-supported
- 2 of 5 candidates Phase 2 or later are PDP-supported

2020: PDPS ARE POISED TO DELIVER

- 20 total projects
- More than half are Phase 2 or later
- More than 2/3 of all candidates are PDP-supported
- 7 of 11 late-stage candidates are PDP-supported