

事業コンセプト

J F R D R

一般社団法人
日本希少疾患研究基金

読者の方へ

- 本資料は、システムレベルでのベンチャーキャピタル（VC）モデルの経済性に焦点を当てています
- したがって、投資家をVCファンドに誘致するために必要な「期待倍率」は、すべてのVCファンドの全体的な収益に基づいて計算されています。言い換えれば、少数の成功プロジェクトやファンドが、他のすべてのプロジェクトやファンドで発生した多額の損失を補填する必要があります
- 資本コストの重要性という核心を伝えるため、モデルは大幅に簡略化された仮定に基づいています
 - 実際には、VCファンドは通常、創薬の特定の段階にのみ投資し、他の投資家とコンソーシアムを組んで投資を行います
 - この方法では、最終的に失敗する薬からもファンドの投資回収倍率(エグジット・マルチプル)が発生しますが、これらは他の投資家にとっては損失となります
- すべての計算は開発コストのみを考慮し、資本コストの役割に焦点を当てています
- CMC（製造管理）、商業化、および関連コストは、VC資金によるバイオフーマモデルとの直接比較のために最後に考慮されます

JFRDRが日本に必要な3つの理由

1. 社会的契約

日本および世界の超希少疾患の患者さんは、生存し、より良い生活を送るために治療薬を必要としています

2. バイオメディカル イノベーション

日本の臨床開発(R&D)エコシステムは、超希少疾患によって牽引される新規モダリティ開発において、失われた競争力を取り戻すための公的投資を必要としています

3. 国家安全保障

世界のサプライチェーンや同盟関係が揺らぐ中、日本には現在より遥かに高いバイオファーマのイノベーション力と製造能力が求められています

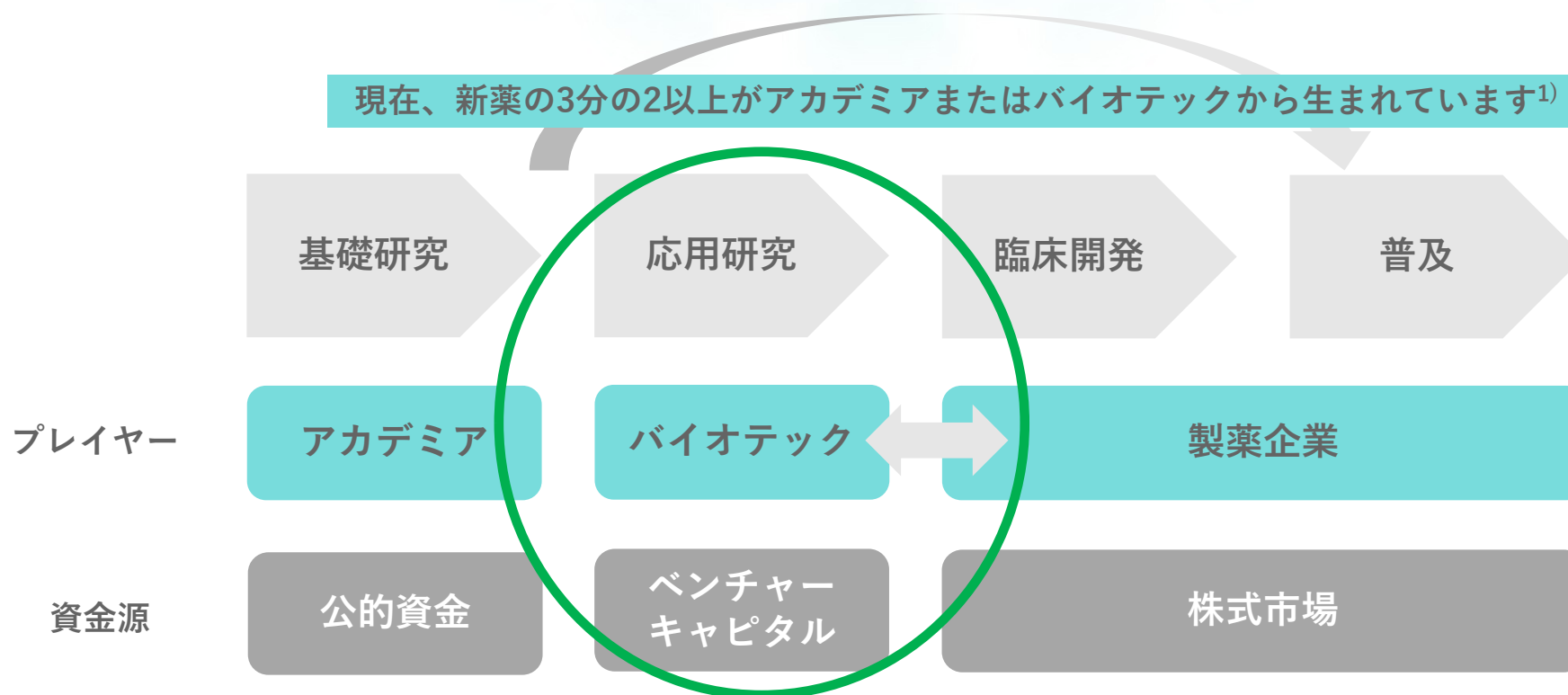
この3つの根拠は、日本がGHITの成功を再現しつつ、世界的に広がりつつある協働の枠組みの中で、もう一つの市場の限界-超希少疾患におけるドラッグ・ロス-に取り組む機会につながります

目次

- バイオファーマ・イノベーションの経済学
- 超希少疾患のビジネスモデルの限界に対処する新たなモデル
- JFRDR – 日本及びその先の患者さんのために
- なぜ、JFRDRが必要なのか

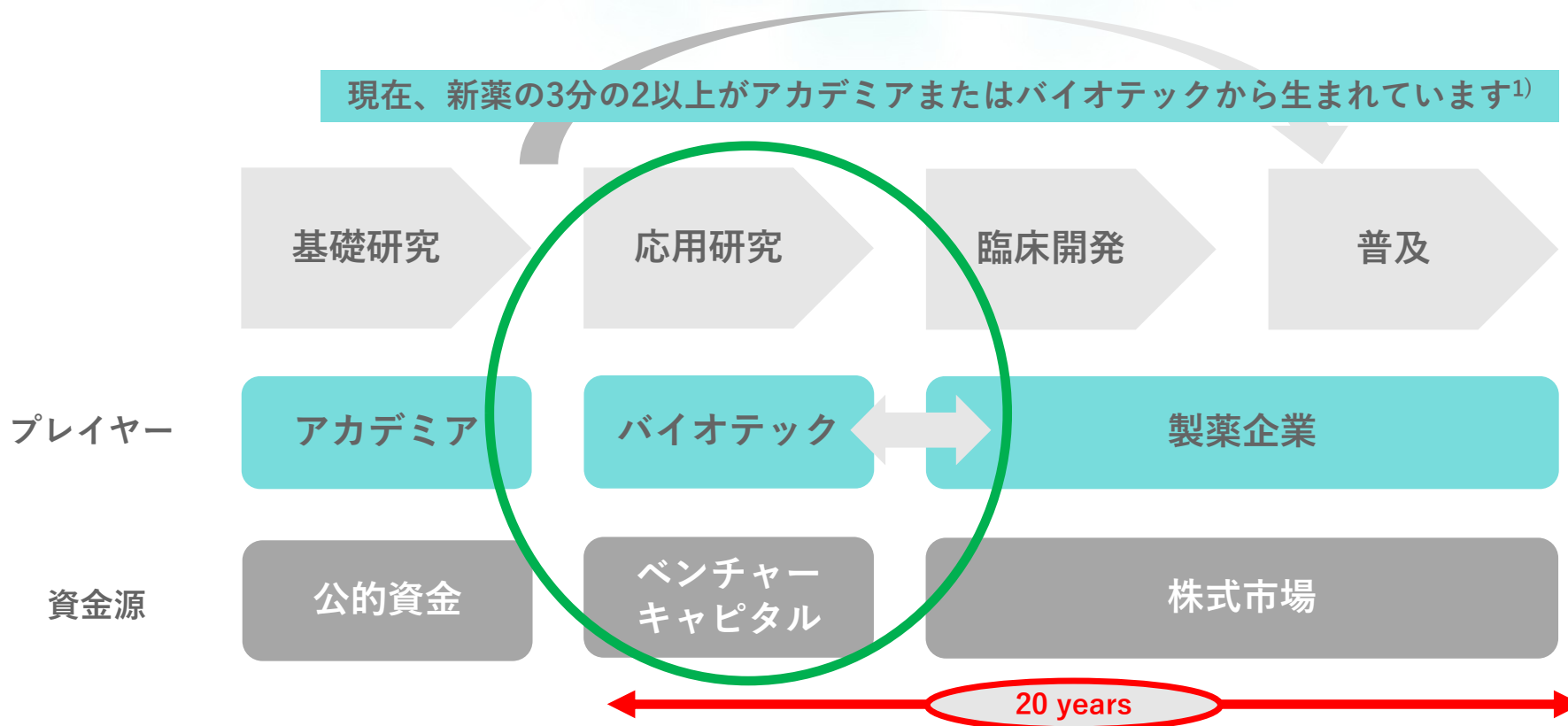


1980年頃の米国における複数の政策変更は、イノベーションの主要な障壁を取り除くことを目的とし、各プレイヤー間の新たな分業体制を伴う
現在の米国バイオ医学イノベーションシステムの出現を促しました



Source: 1) <https://www.fiercebiotech.com/biotech/emerging-biopharma-companies-dominate-rd-pipeline-22-iquia-finds>

トランスレーショナル研究から特許期間の終了まで約20年かかります
(新規モダリティではさらに期間が長くなります)

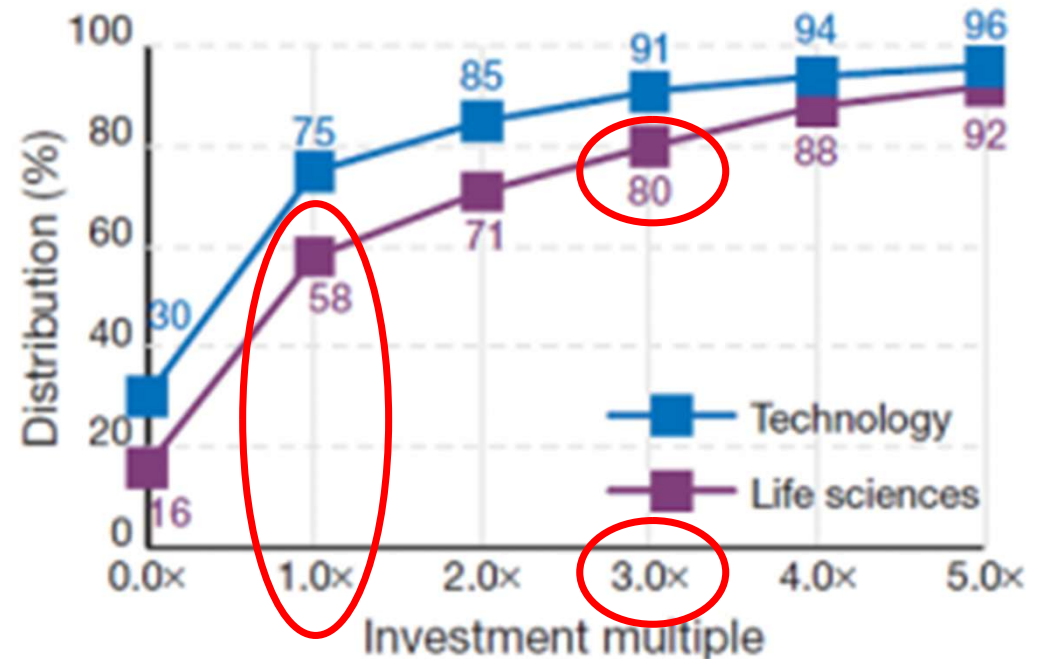


Source: 1) <https://www.fiercebiotech.com/biotech/emerging-biopharma-companies-dominate-rd-pipeline-22-iquia-finds>

市場の限界の経済学: テック系 vs ライフサイエンス系のVCリターン

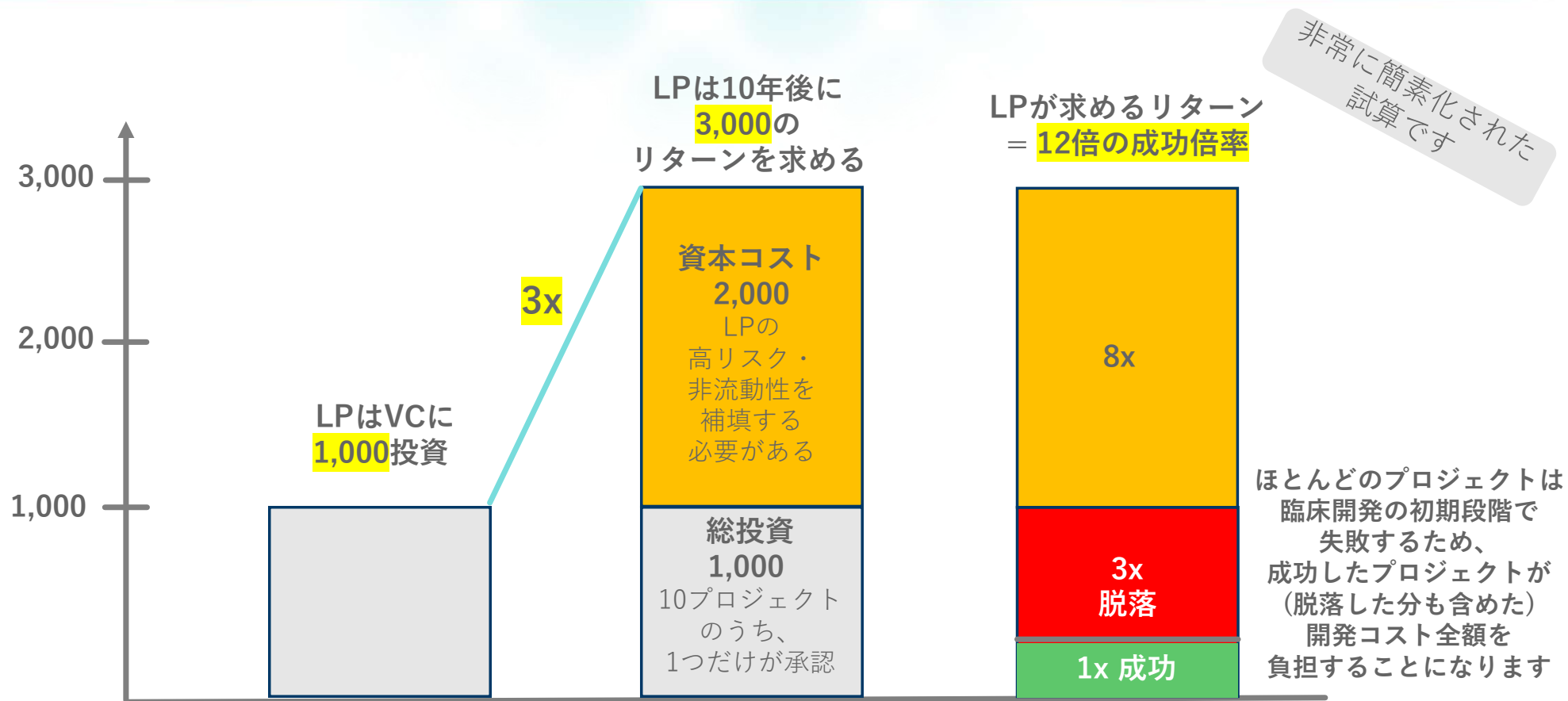
- ライフサイエンス投資家として、元本の一部を失う確率は**58%**にのぼります
- **流動性の欠如**と相まって、これは**10年間で3倍の投資倍率**（年複利13%に相当）という平均的な期待値につながりますが、この約束を果たせているのは全体の**20%**に過ぎません
- 一部の投資家は**5倍**（年複利17%）のリターンを期待しています

実際の投資リターン



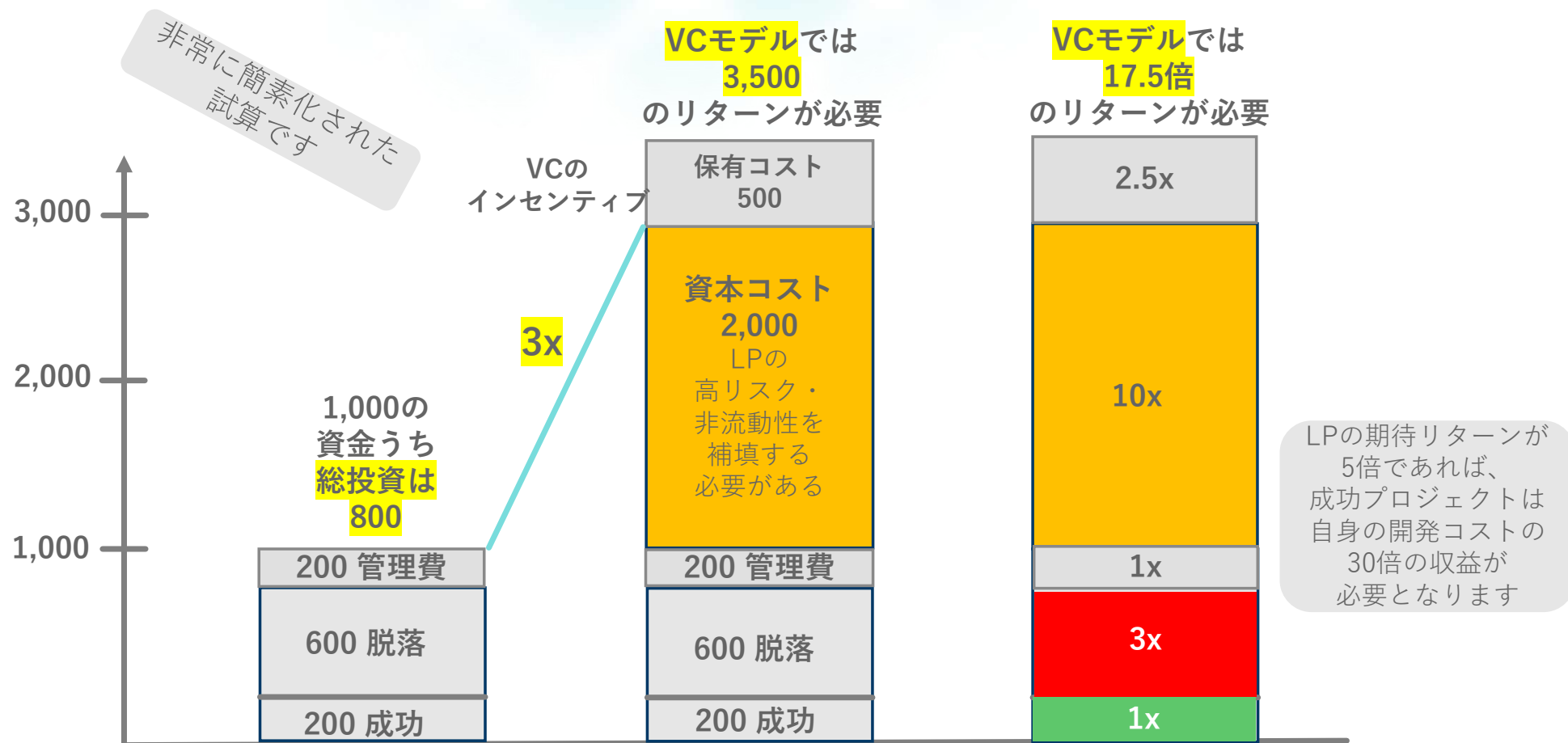
Source: Booth et al: <https://lifescivc.com/2011/07/life-sciences-the-rodney-dangerfield-of-venture-capital/>;
A similar distribution of returns can be found in <https://www.baybridgebio.com/blog/biotech-power-law>

成功プロジェクトに求められる期待リターンが3倍であれば、
成功した1つのプロジェクトが、開発コストの12倍をリターンする必要があります



VC = Venture Capital; LP = Limited Partner, i.e. investors in the VC fund

VCは無償では働けず、VC報酬(年2%の管理費および20%の保有コスト)を含めると「成功コスト」に対する必要倍率は17.5倍に上昇します



「成功したプロジェクトは開発コストの12倍～17.5倍のリターンが必要」
という理論値は現実の事例でも概ね一致しています

ゾルゲンスマ[®]

(オナセムノゲン アベパルボグ)

- SMA1型を標的とした遺伝子治療
- 開発元：Avexis社
累積赤字総額 = 5億8,170万ドル
(2018年3月時点)
- 2018年4月にノバルティス社が買収。
買収額：総額87億ドル(保有現金5億8,660万
ドルを差し引き) = 純金額 81億ドル
- 純エグジット価値 81億ドル ÷ 投資総額 5億
8,200万ドル = 約**13.5倍**

イエスカルタ[®]

(アキシタカブタゲン シロルユーセル)

- DLBCL等を標的としたCD-19標的自家CAR-T
細胞療法
- 開発元：Kitepharma社
累積赤字総額 = 6億9,000万ドル
(2017年9月時点)
- 2017年8月にギリアド社が買収。
買収額：総額119億ドル(保有現金6億2,500万
ドルを差し引き) = 純金額 112.5億ドル
- 純エグジット価値 112.5億ドル ÷ 投資総額 6
億9,000万ドル = 約**16倍**

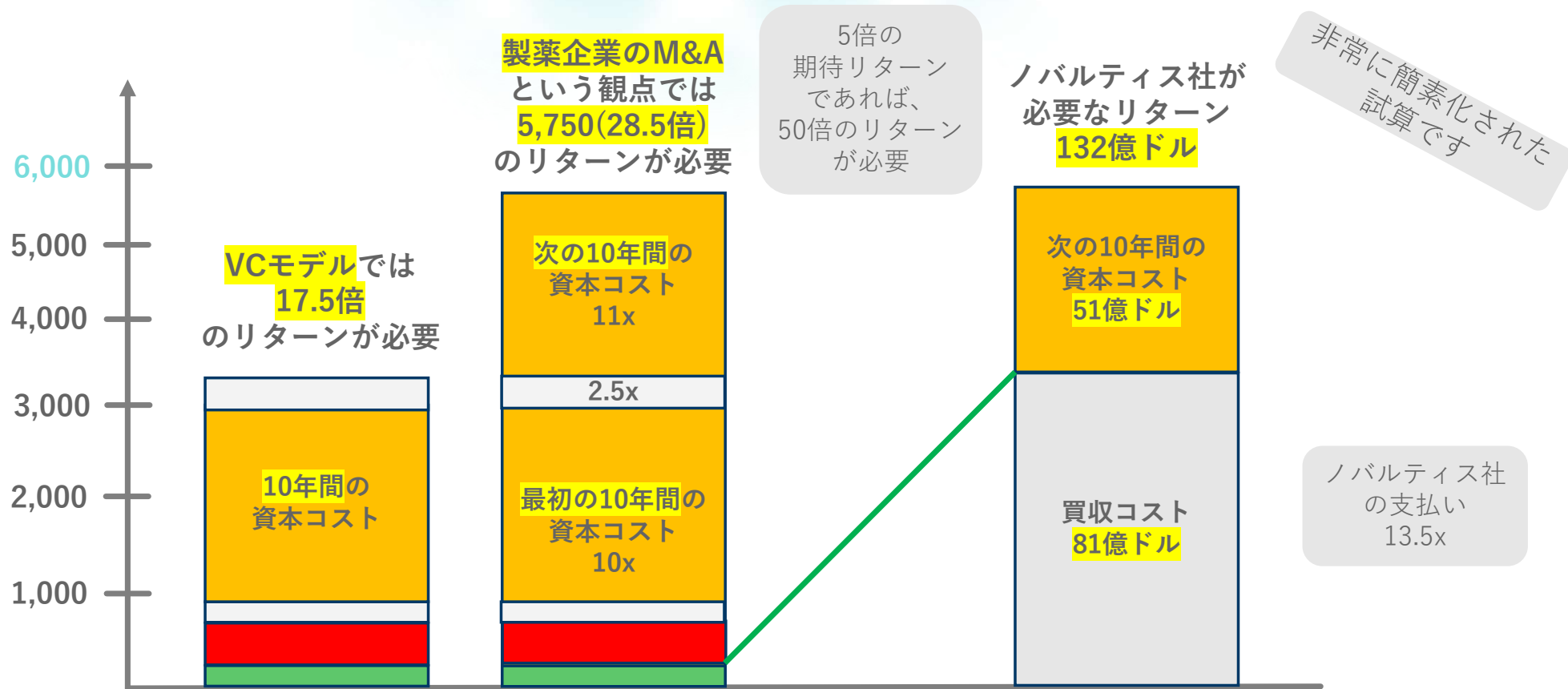
Sources: for Avexis - <https://www.sec.gov/Archives/edgar/data/1652923/000155837018004054/avxs-20180331x10q.htm>

For Kite - <https://www.bamsec.com/filing/151058017000003?cik=1510580>

https://www.sec.gov/Archives/edgar/data/1510580/000156459015001985/kite-10k_20141231.htm#Item_7_Management_Discussion

<https://www.sec.gov/Archives/edgar/data/1510580/000119312517161774/d384838dex991.htm>

買収した製薬企業も、特許保有期間中に自身の資本コスト(年10%)を回収する必要がある、すべての投資家を満足させるための必要倍率は28.5倍に跳ね上がります



注記：この試算は企業買収（M&A）を前提としています。

契約一時金（アップフロント）、マイルストーン、およびロイヤリティの支払いで構成されるライセンス契約の場合、資本コストはより低くなります

ノバルティスのAvexis社買収は、良い投資とは言えません
適正価格以下で買収したものの、資本コストを回収するための症例数が不足しています

事例：SMA1型の遺伝子治療薬ゾルゲンスマ®

ノバルティス社によるAvexis社の
買収額: 81億ドル

ノバルティス社が必要な総利益額:
132億ドル

米国での患者一人あたりの薬価:
210万ドル

10年間で6,300人の
投与患者が必要
(製造原価を考慮すると
さらに多くが必要)

米国の年間発症数
は350人未満
(2つの競合品もあり)

- 合理的な利益を得るには、ノバルティス社は他の国々で遥かに多くの症例を見つける必要がある
- ライフサイクルマネジメントによる増収の余地は限定的である (2歳以上の小児向け髄腔内注射など)
- この薬剤は、現在であれば、もはや開発される可能性は低い

分析の結果、現在のバイオ医薬品イノベーションモデルは、希少疾患の分野を筆頭に、急速にその限界に達しつつあることが示されています

このモデルにおいて
経済的に成立可能な希少疾患は、残り
わずかしかありません
(詳細は次ページ参照)

Rare
Diseases

希少疾患治療薬の価格は
あまりに**高騰**しており、
米国でさえも、
これらの薬が処方されることは
難しい

価格水準の乖離が
ますます進んでおり
(先発医薬品において米国は日本の**3.4倍**)
米国政府による
「最恵国待遇(MFN)」に基づく
強硬な価格政策を招いています

General
Pharma

大手製薬企業は、
ポートフォリオの再編成を行い、
より**リスクの低い**分野へと
シフトしています
(例：ファイザーによる遺伝子治療プログラムの
中止、および武田薬品、サノフィ他による
細胞治療からの撤退など)

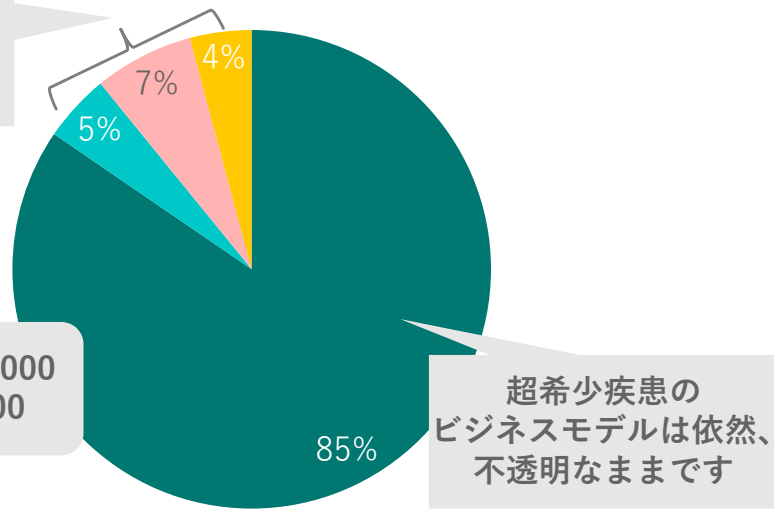
Sources: 1) RAND Corporation: Report on International Prescription Drug Price Comparisons, using 2022 data
2) <https://www.fiercepharma.com/special-reports/most-expensive-drugs-us-2025>

商業的に成立可能な程度の患者数が存在する希少疾患は約400のみであり、そのほとんどは既に市場に出ているか、臨床パイプラインで取り組まれています

有病率に基づく希少疾患の分布 (n = 3500)

390疾患のみが
商業的に成立可能な
有病者数です

有病率 <1/1,000,000
= 有病者数 <300



<1/1,000,000 1-9/100,000
1-9/1,000,000 1-5/10,000

- 米国（およびその他の市場）におけるオーファンドラッグ法による優遇措置や薬価の上昇により、これまで数百もの希少疾患治療薬の開発が促進されてきました
- しかし、数千にも及ぶ超希少疾患にとって、現在のビジネスモデルでは成立不可能可能です
- FDAは、米国内での年間発症数が300人未満の疾患や適応症を「経済的に実行不可能」と呼んでいます

Source: Wakap et al, European Journal of Human Genetics volume 28, pages165–173 (2020), DOI: 10.1038/s41431-019-0508-0

目次

- バイオファーマ・イノベーションの経済学
- 超希少疾患のビジネスモデルの限界に対処する新たなモデル
- JFRDR – 日本及びその先の患者さんのために
- なぜ、JFRDRが必要なのか



VC/バイオテック/製薬ビジネスモデルの限界は「ドラッグ・ロス」を招いています
これは世界的な課題であり、悪化の一途をたどっています



最も顕著で、
政治的な注目度が高い



日本ほど深刻ではない
が、品目数は増加中



商業的理由で数百もの
薬剤の開発が
中止になっている



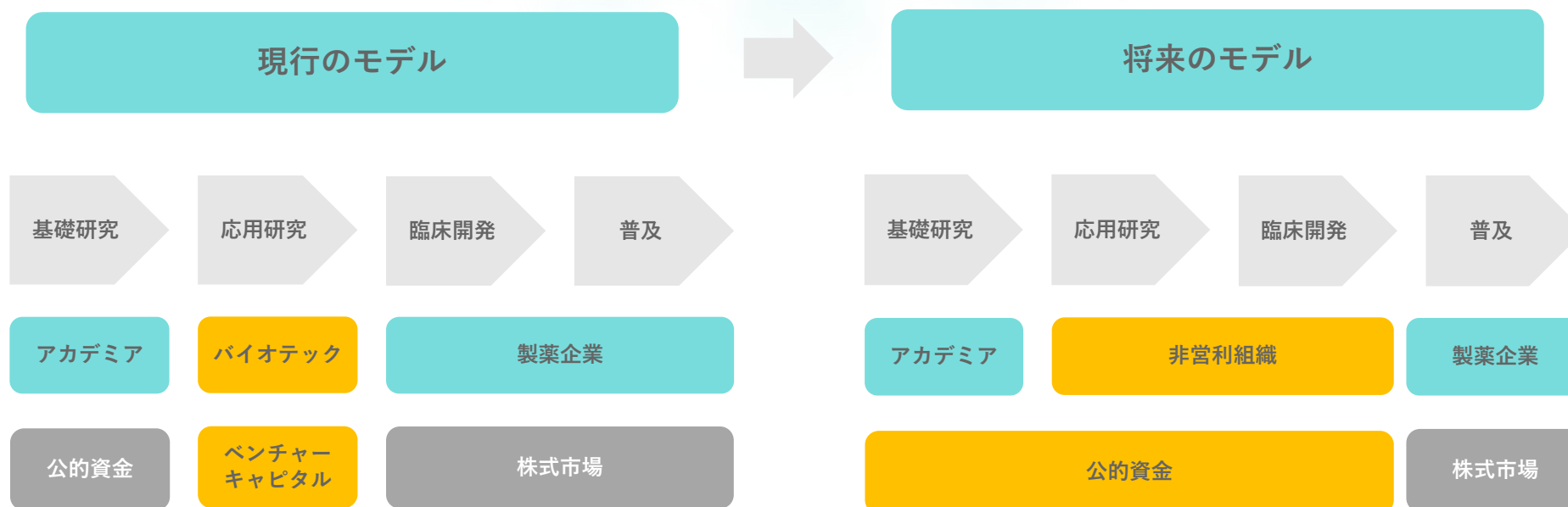
多くの薬剤が
各国の医療制度では
対応できない価格である

取り組むべき多くの課題

1. 高い失敗率 – AIは助けになるが、問題解決にならない、まだまだ解明できていない生物学的分野が多い
2. 複雑な規制 – プロセスに手間がかかり、非常に高額で、長い時間を要する – プロセス改善が必要である
3. CMC(製造管理)が非常に高額 – 規模の経済が限定的でありながら、技術開発が必要である
4. バイオフィーマの時価総額が低い/2022年以降IPO数も減じている(復調の兆しはある)

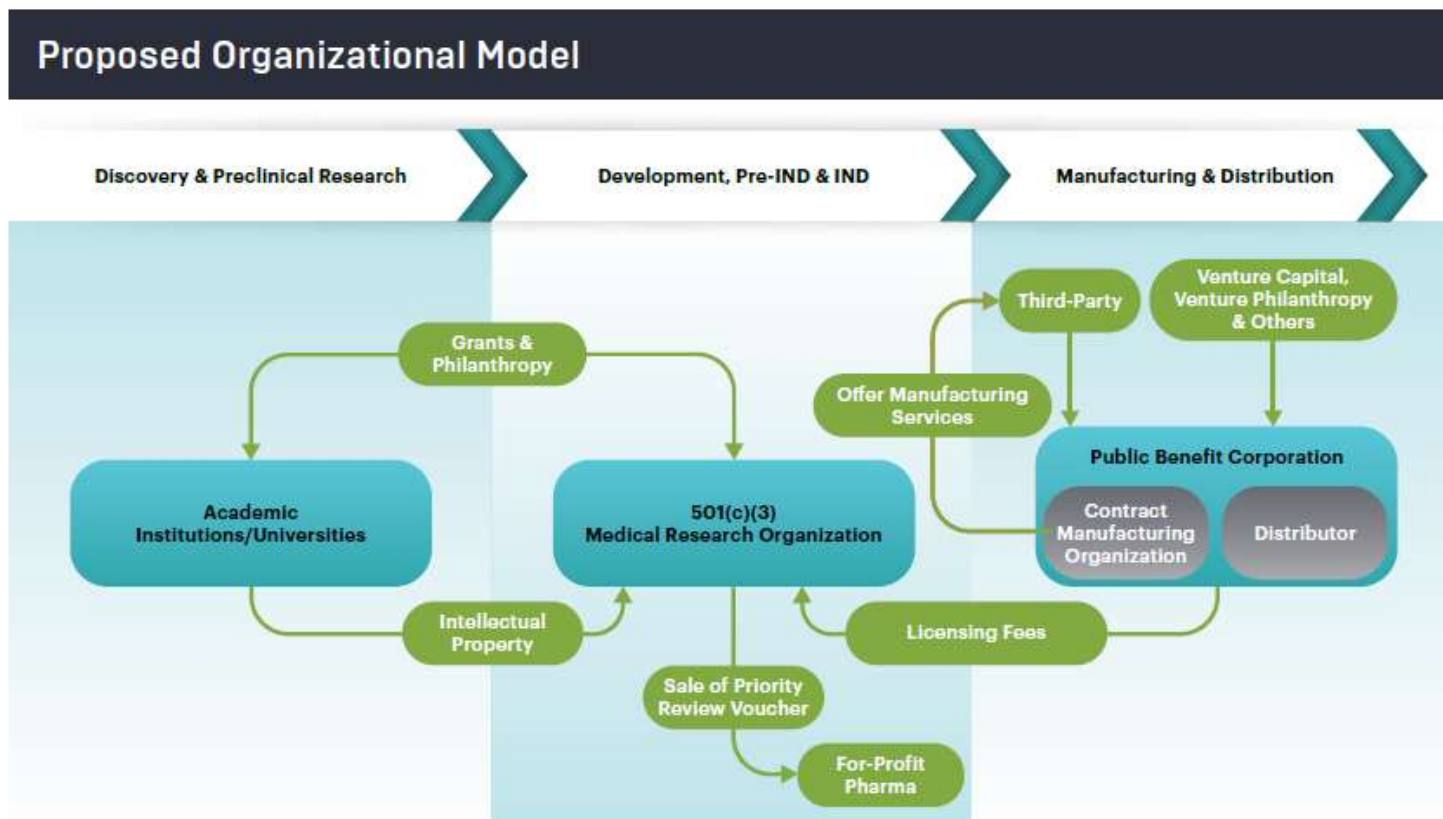
しかし、最大の課題は高い資本コストを必要とする現在のVC主導型のビジネスモデルであり、
世界中で課題解決の方法が実行に移されつつある

数千もの超希少疾患に対する将来のイノベーションには、
 現行のモデルと並行して機能する、別の「ビジネスモデル」が必要となります



これを実現する一つの考え方は、直接的な経済的見返りを期待しない基礎科学への公的資金提供を、超希少疾患の臨床開発まで拡張することです
 ここでの「超希少」疾患とは、米国内での年間発症数が300人未満、あるいは商業モデルにおいて患者一人あたり50万ドル以上の薬価を必要とする疾患と考えています

細胞・遺伝子治療のために提案された組織モデル：
 非営利団体が助成金を得て研究開発(R&D)を行い、医学研究組織(MRO)が臨床試験を通じて製品をさらに
 開発・実用化し、公衆便益会社(PBC)が財務的に自立した基盤の上で製品の製造と流通を担う



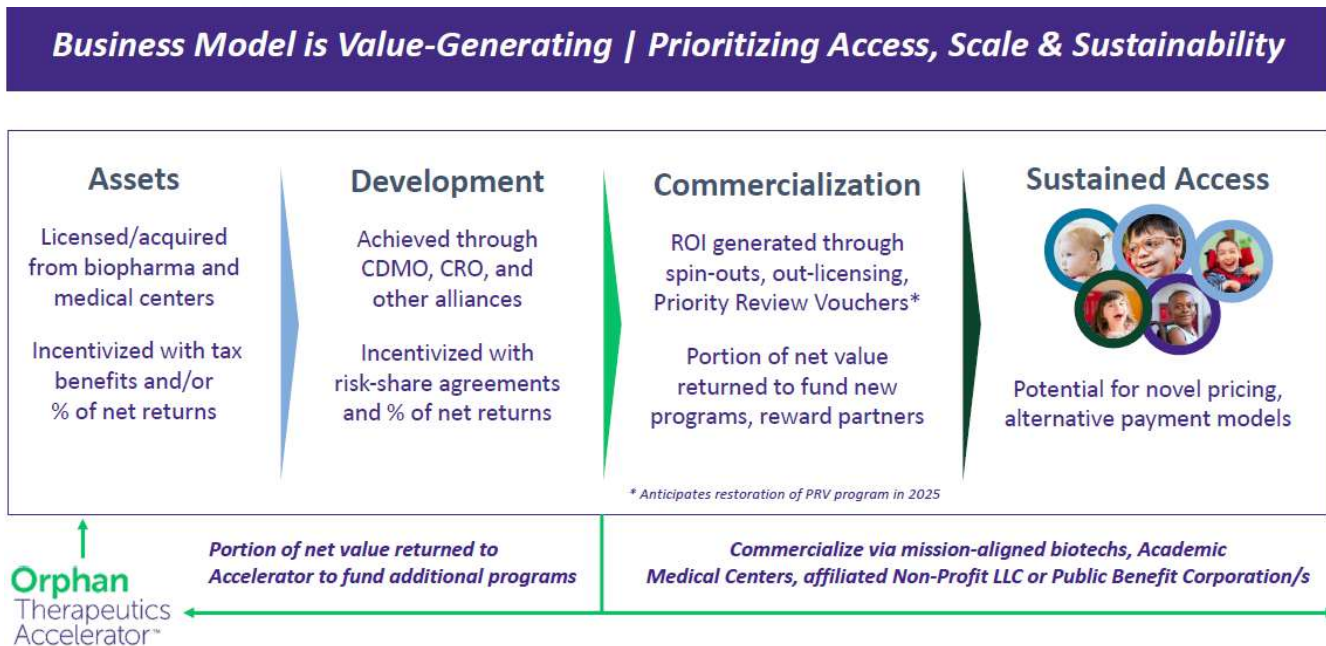
ジェニファー・
 ダウドナ氏の
 革新ゲノミクス研究所
 (IGI)が提唱する
 非営利アプローチ

Source: Innovative Genomics Institute: <https://innovativegenomics.org/making-genetic-therapies-affordable-and-accessible/>

実践されている新たなモデル: OTXLの使命は「有望な超希少疾患治療薬を患者に届けるための実行可能な道を創り出すこと」です

OTXL – Orphan Therapeutics Accelerator

- 2024年設立
- Chiesi社とBial社が初期資金を提供
- 非営利モデル。資金源は未詳だが、患者団体、慈善団体、ベンチャー・フィランソロピー（投資による慈善活動）を対象としている
- 当初は、商業的に成立不可能となった米国内の臨床開発段階で停滞している100以上の候補薬に焦点を当てる
- <https://www.orphantxl.com/about-us>



実践されている新たなモデル: 超希少疾患に極めて関連性の高い異なる技術プラットフォームに焦点を当てる米国の2つのプレイヤー

Gemma Bio

- AAV(アデノ随伴ウイルス)ベースの遺伝子治療のパイオニアである**ジム・ウィルソン氏**により、2024年10月1日に設立
- 遺伝子治療に特化したCROである**Franklin Biolabs社**と提携
- **VC資金による運営。ビジネスモデルについては今後明確化される予定**
- <https://www.gemmabiotx.com/>
- **ブラジルとの遺伝子治療プラットフォームに関する技術移転契約**
<https://www.prnewswire.com/news-releases/gemmabio-announces-100-million-agreement-with-brazils-leading-health-research-institute-302270296.html>
- **およびアブダビとの提携**
<https://www.bizjournals.com/philadelphia/news/2025/07/07/gemma-bio-jim-wilson-abu-dhabi-gene-therapy.html?b=1751908897^22562564>

N-lorem Foundation

- Ionis社の創設者である**S.T.クルーク氏**により、2019年に非営利財団として設立
- **ASOプラットフォーム**。世界中に同じ変異を持つ患者が30人未満の「**ナノ希少疾患**」に焦点を当てる
- 複数の**企業寄付**、**NIH(米国国立衛生研究所)**、および**様々な財団**から資金提供を受けている
- <https://www.nlorem.org/our-approach/our-partners/>
- 他多数の提携先に加え、「世界最大のオリゴ核酸医薬品製造受託会社」である**日東電工アベシア社**と提携
- <https://www.nlorem.org/n-lorem-foundation-announces-partnership-with-nitto-avecia-to-strengthen-development-of-personalized-medicines-for-patients-with-ultra-rare-diseases/>

実践されている新たなモデル: 欧州で長年確立されている2つのプレイヤー

Telethon Italia

- **1990年**設立
- 著名人や患者が参加する大規模な全国テレビキャンペーンに基づく一般市民からの寄付を資金源とする
- 現在、年間約5,000万ユーロを調達している
- **1990年**以来の調達資金は**7億4,100万ユーロ**にのぼる
- 自社内に研究ラボを持つ助成金提供機関である
- Orchard Tx社によって市場から撤退した治療薬 (Strimvelis) について、現在は製造販売承認保持者となっている
- FDA (米国食品医薬品局) は最近、ウィスコット・アルドリッチ症候群の治療薬として Waskyra を承認した。米国での権利は OTXL 社にライセンス供与されている
- <https://www.fondazionetelethon.it/en/>

AFM Téléthon and Généthon

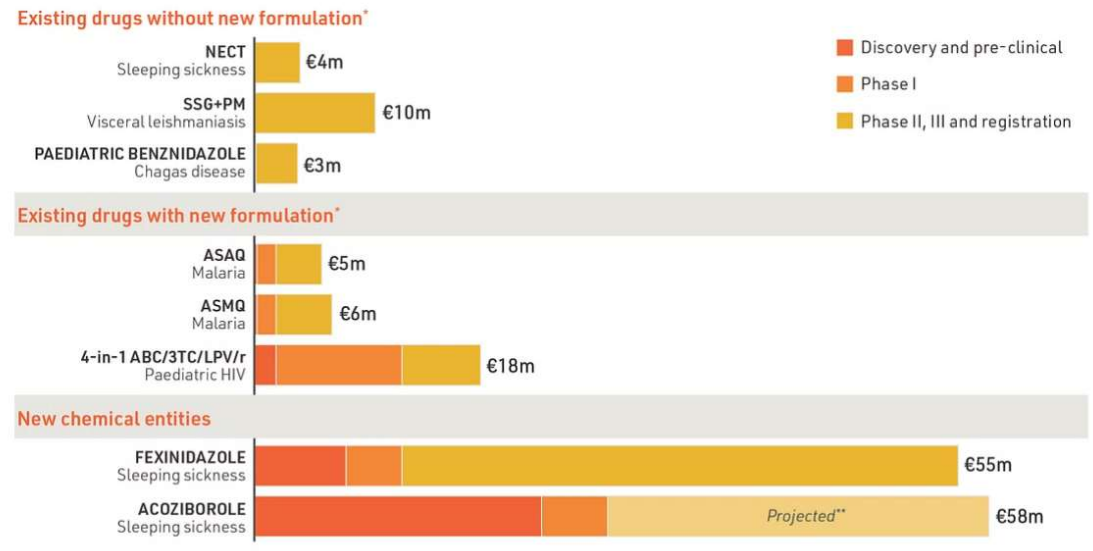
- それぞれ**1958年**、**1990年**に設立
- 著名人や患者が参加する大規模な全国テレビキャンペーンに基づく一般市民からの寄付を資金源とする
- 2024年のテレソンでは96,553,593ユーロを調達した
- 当初の焦点は筋ジストロフィーであったが、現在はより広範な疾患を対象としている
- <https://www.genethon.com/who-are-we/our-history/>
- <https://www.afm-telethon.fr/en/our-history>

実践されている新たなモデル: DNDiは、利益ではなく患者のための治療薬を開発するために、世界中にある200以上のパートナーからなる仮想オーケストラの指揮者として活動しています

DNDi – Drugs for Neglected Diseases Initiative

- 顧みられない疾患のための薬を開発する
非営利のイニシアティブ
- 1999年設立
- **国境なき医師団**、パストゥール研究所、および半数の発展途上国の政府機関によって資金提供されている
- **2024年には、5,700万ユーロの助成金を調達**
- 20年間での総調達額：**8億8,000万ユーロ** (公的資金62% / 民間資金38%、そのうち約15%はゲイツ財団から)
- バリューチェーン全体における商業プレイヤーからの現物出資によって支えられている
- <https://dndi.org/about/who-we-are>
- <https://dndi.org/wp-content/uploads/2025/06/DNDi-FinancialReport-2024.pdf>

DNDiによる研究開発の実際の実費費用



* Combinations (as loose or fixed-dose combinations) or repurposing of existing drugs
 ** Acoziborole is still under development. Late-stage costs are projections.

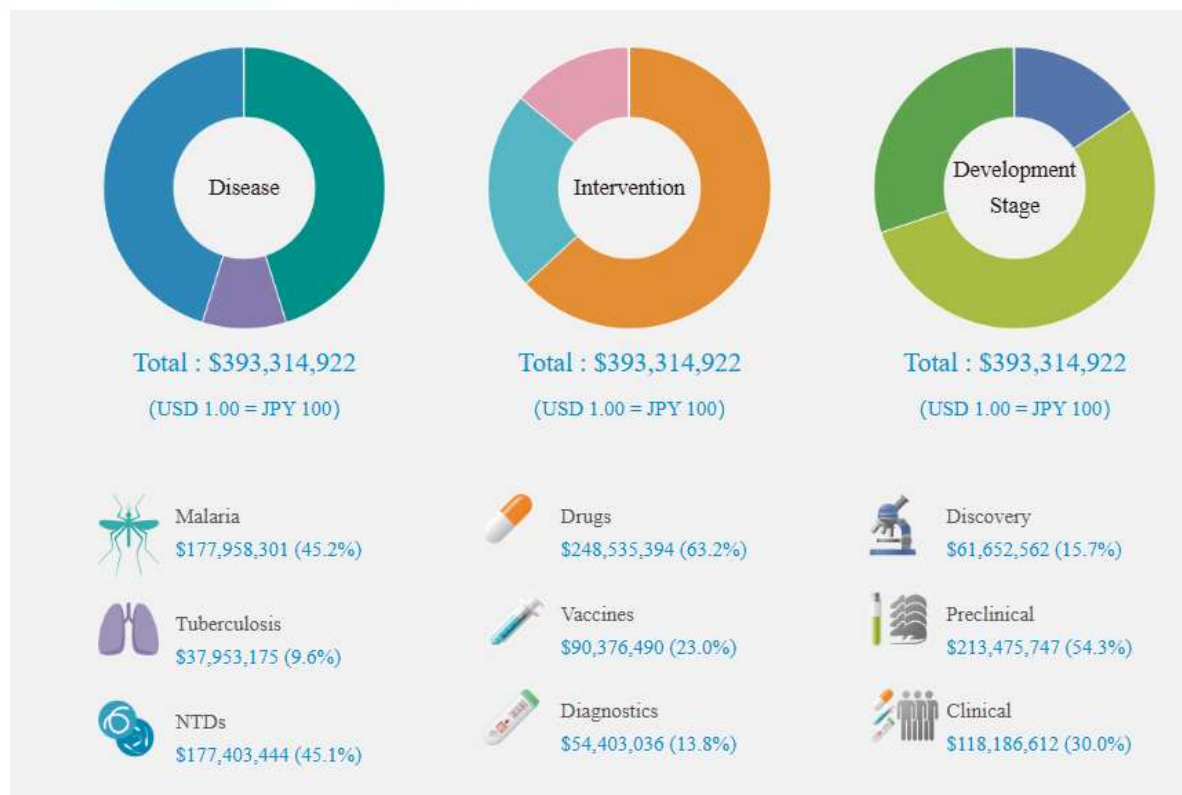
プラス 産業パートナーによる現物出資

実践されている新たなモデル: GHITは、研究開発への投資とグローバルなパートナーシップの促進を通じて、日本のイノベーションとリーダーシップを活かし、顧みられない感染症と闘うために2013年に設立されました

GHIT

–グローバルヘルス技術振興基金

- 2013年に日本で一般社団法人として設立
- 日本政府、ビル&メリンダ・ゲイツ財団、ウェルカム・トラスト、および国内製薬企業6社により資金提供されている
- 2013年以来、**3億9,300万ドル**を投資
- **2024年**に住血吸虫症治療薬が**初めて承認**された
- <https://www.ghitfund.org/>
- <https://www.ghitfund.org/investment/overview/en>



目次

- バイオファーマ・イノベーションの経済学
- 超希少疾患のビジネスモデルの限界に対処する新たなモデル
- JFRDR – 日本及びその先の患者さんのために
- なぜ、JFRDRが必要なのか



JFRDRは、ドラッグ・ロスを4つのカテゴリーに分類しています

現在のドラッグロス製品

既知の案件

ドラッグロス解消に向けた取組が
進行している2016~2020年に
FDA及びEMAで承認された86製品

- その多くはアンメット・ニーズが高くない、あるいは関連性がない、もしくは既に市場で対処されている
- JFRDRによる分析が進行中

あまり知られていない案件

2021~2025年にFDA及びEMAで承認され、日本
で未開発の希少疾病用医薬品
(100製品程度:現在精査中)

- その多くはアンメット・ニーズが非常に高い
- JFRDRによる分析が進行中

将来のドラッグロス製品

知られていない案件

日本人症例が組み入れられていない
海外で臨床実施中または
商業的理由で臨床試験が中止された製品

- その多くはアンメット・ニーズが非常に高い
JFRDRによる分析が進行中

日本のアカデミアの案件

日本のアカデミア(一部はAMEDが支援)の
トランスレーショナル研究による製品
(PoC前及びPoC後)

- 多くがアンメット・ニーズが高いが、そのほとんどは資金不足かつ支援不足の状況にある

重要な点は、それぞれリスク特性や日本の患者さんに届くまでの期間が異なっていることであり、JFRDRはポートフォリオを構築する際に考慮する必要があります

現在のドラッグロス製品

ドラッグロス解消に向けた取組が進行している2016~2020年にFDA及びEMAで承認された86製品

承認までのリスク: 低リスク
承認までの期間: 2~3年

2021~2025年にFDA及びEMAで承認され、日本で未開発の希少疾病用医薬品(100製品程度:現在精査中)

承認までのリスク: 低リスク
承認までの期間: 2~3年

将来のドラッグロス製品

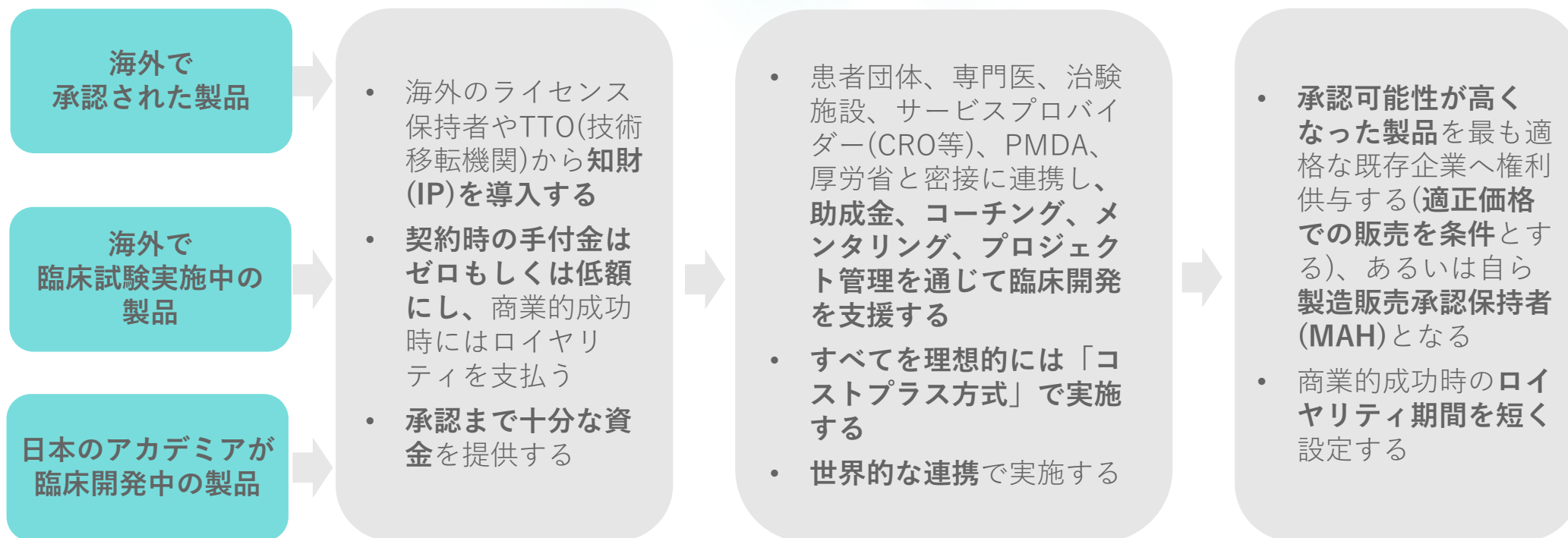
日本人症例が組み入れられていない海外で臨床実施中または商業的理由で臨床試験が中止された製品

承認までのリスク: 中リスク
承認までの期間: 5~7年

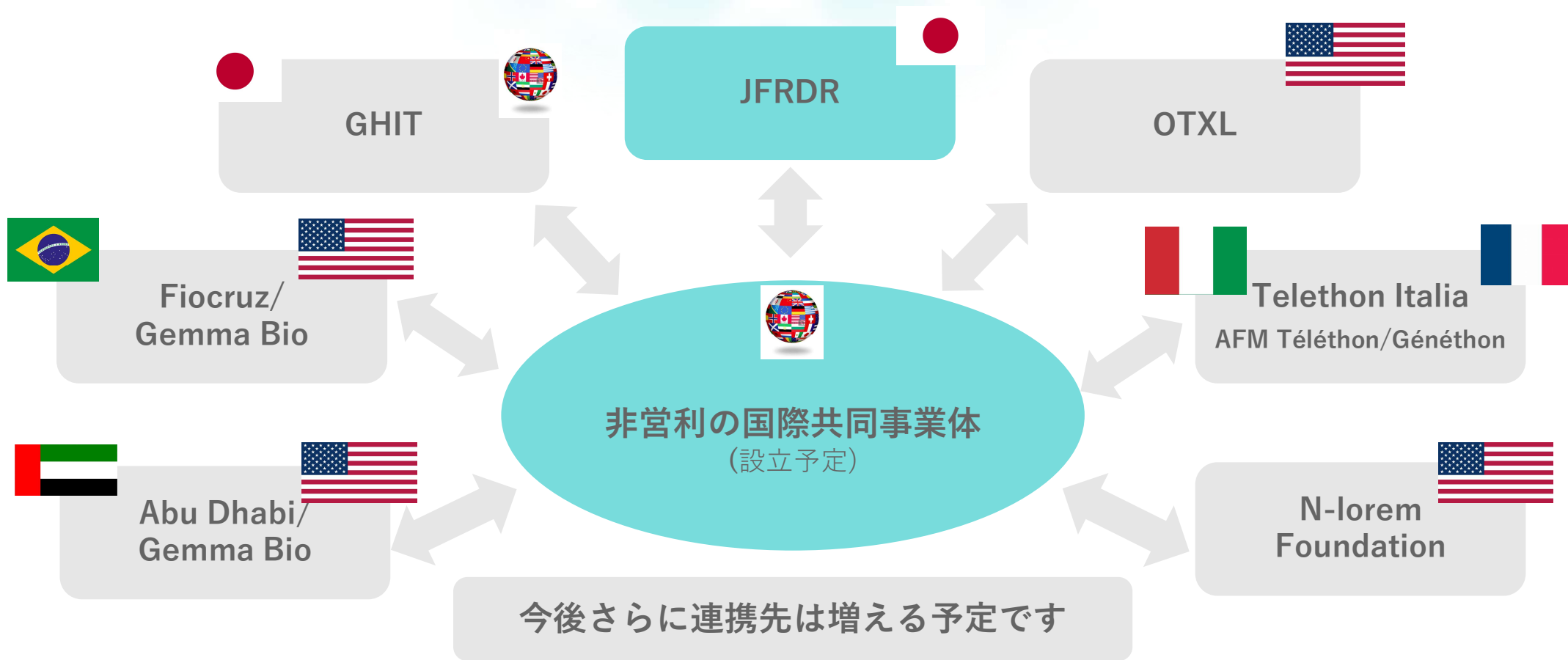
日本のアカデミア(一部はAMEDが支援)のトランスレーショナル研究による製品(PoC前及びPoC後)

承認までのリスク: 高リスク
承認までの期間: 10~15年以上

JFRDRは、商業的に成立不可能な超希少疾患の新薬を開発し、低資本コストを反映した「適正な価格」で、既存の営利企業を通じて日本の患者さんに新薬を提供することです



Vision: JFRDRは、経済的に成立困難な超希少疾患の創薬研究開発に取り組むグローバルな連携において、日本の主要なプレイヤーとなることを目指しています(1/2)



Vision: JFRDRは、経済的に成立困難な超希少疾患の創薬研究開発に取り組むグローバルな連携において、日本の主要なプレイヤーとなることを目指しています(2/2)

ビジョン：超希少疾患に取り組む非営利の国際共同事業体

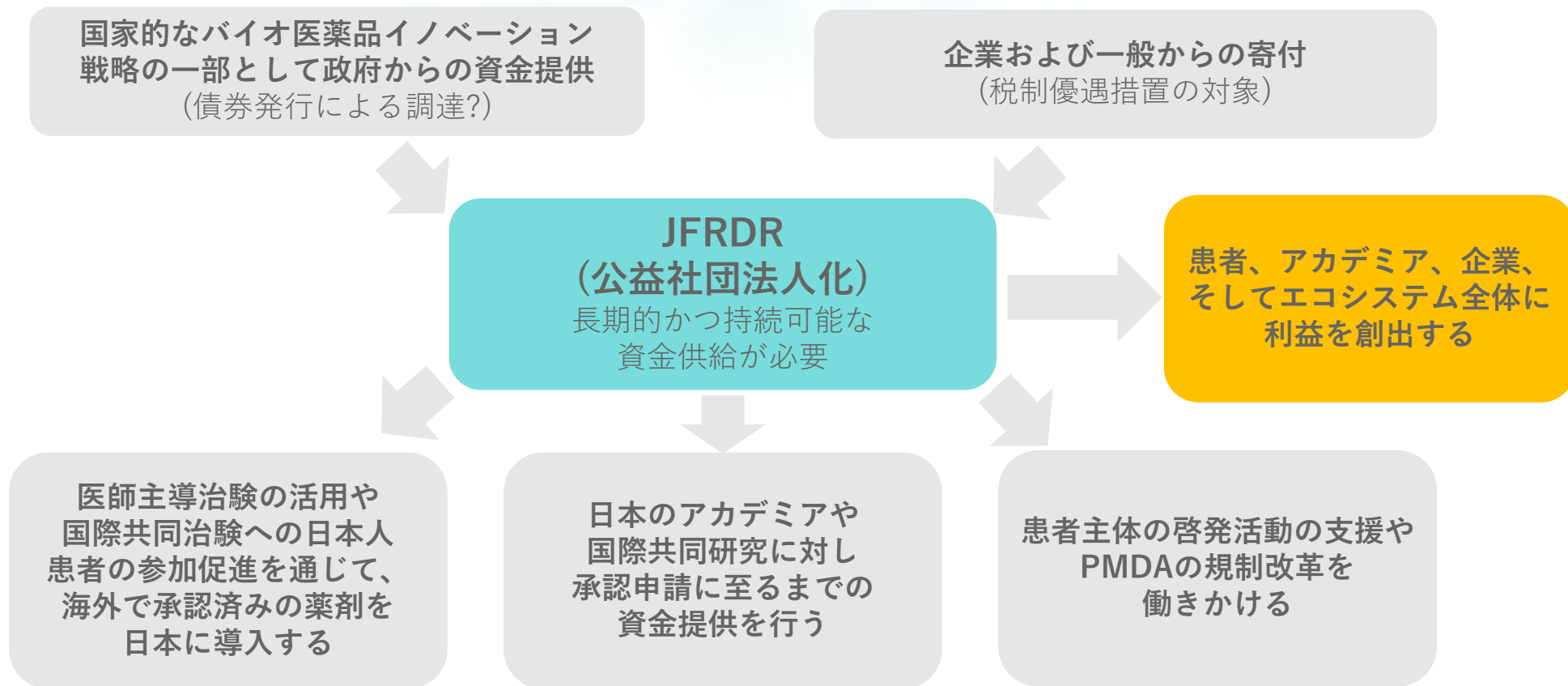
- 超希少疾患の助成金に基づくトランスレーショナル・リサーチ:異なる地域のKOL、患者、およびデータを集約する
- **優先順位**の調整と**重複の回避**
- **レジストリ**、**自然歴調査**、**バイオマーカー開発**、および**臨床試験**の共同実施
- **バイオ製薬企業**や**サービスプロバイダー**からの**現物出資**による支援
- **資材とサービスの共有**: 核酸、ベクター、LNP(脂質ナノ粒子)、CDMO、CROなど…
- **共通の契約モデルの活用**:
 - ライセンスの導入および供与(TTO:技術移転機関、商業的ライセンス保持者との交渉)
 - クロスライセンス
 - 資材・サービスプロバイダーおよび研究施設への支払いスキーム
- **共同製造アプローチ**: (限定的ではあるが)規模の経済を享受し、コストを削減する
- **患者団体の組織化と関与**、および**治療機会の確保**のための**共通モデルの構築**

海外組織が主導する検証的臨床試験に、**3~5名の日本人患者を組み込むことで**、日本での承認が可能かどうかをPMDA(医薬品医療機器総合機構)と協議・確認することが、最初の具体的なステップとなり得る¹⁾

JFRDRは、その目的を達成するために、経済的に成立困難な超希少疾患の創薬開発に取り組む、新たなグローバル・エコシステムと連携した新しい事業モデルを日本で導入します

- JFRDRを成功に導く鍵は、以下の2点にあります。
 1. プロフェッショナルなマネジメント手法の徹底
経験豊富な少数のエグゼクティブ・チームが中心となり、プロジェクト選定やKOLへのコーチングを支援する国内外のトップクラスのアドバイザーがすべての活動をバックアップします
 2. 低コスト資本と実費サービスの活用
公的医療制度にとって比較的低い薬価で製品化できるような低コストな資金調達とサービス活用を推進します
- 現在、世界各地で「非営利モデル」をはじめとする超希少疾患に対する新しい創薬モデルが立ち上がっています。日本も志を同じくする組織が形成するグローバルなネットワークにおいて、日本を代表する組織を確立する必要があります
- JFRDRは、欧米やその他の地域のパートナー組織と共に、顧みられない病気や熱帯病の分野で成果を上げている「非営利型のグローバル連携モデル」(DNDiやGHITなど)を、超希少疾患特有の要件に適応させるべく邁進します

JFRDRはプロフェッショナルなマネジメントによる「非営利の触媒・促進役」として日本の将来的なバイオ医薬品イノベーション戦略の一環で、日本を超希少疾患分野のグローバルプレイヤーへと押し上げます



Source: <https://www.nature.com/articles/d41586-025-01143-7>

JFRDRは、2026年末までに初期の資金調達を完了し、2027年初頭に活動を開始することを目指しています

創設者と設立資金

- **水島 洋:** 研究科学者で、現在は株式会社水島医療情報研究所の代表取締役/所長
- **栄木 憲和:** バイエル薬品株式会社の元代表取締役/会長
- **ロブ コールマンズ:** Recordati SpAのCEO
- **クリスティアン エルツェ:** 戦略コンサルタント及び複数のアカデミアや政府機関のアドバイザー
- **Recordati SpA**が設立資金を提供

進行中の活動

- **一般社団法人**として設立、後に**公益社団法人**へ移行予定
- **希少疾患領域の実務経験を有するCEO**(小脇浩史: Alynlam Japan株式会社、アミリックス・ファーマシューティカルズ・ジャパン株式会社を立ち上げ)を任命
- **ドラッグ・ロス製品のプロジェクト優先順位付けと運営準備**
- **資金調達**

JFRDRの資金調達には、大きく分けて2つのアプローチがあります

方法1: 政府による全額支援 (JFRDRは一切、利益を出さない)

- 米国カリフォルニア州のCIRMと同様の手法
- JFRDRの事業継続中は、政府が全コストを支払う(基礎科学モデル)
- JFRDR自体は自立していないが、**医療制度の持続可能性と広範なイノベーション・エコシステムの競争力向上**に寄与する
- JFRDRが開発する製品の**薬価**は、VCモデルで必要とされる薬価の**20%程度**に出来、**必要とされる全ての患者さんに薬剤を届ける**ことが出来る

方法2: JFRDRは、徐々に自立運営を目指す

- **財政投融资(FILP)**的な手法
- 政府は最初の5~10年間のコストを全額負担し、充実したポートフォリオの構築を可能にする
- 充実したポートフォリオの構築後は、すべてのコストを賄える「定常状態」に達し、財務的に持続可能となる
- JFRDRが開発する製品の**薬価**は、VCモデルの**50%程度**となり、医療制度の持続可能性への寄与は減少する

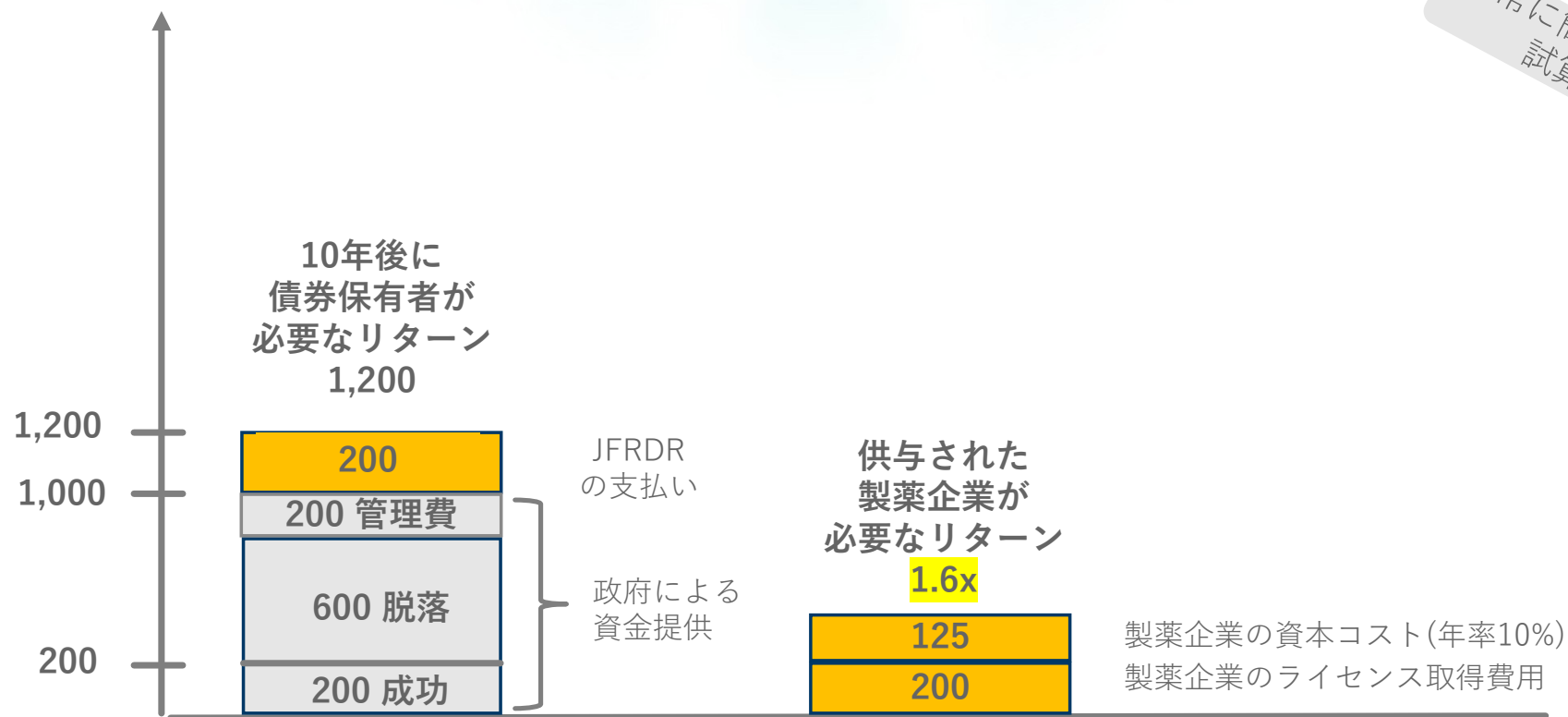
どちらのアプローチが最適かを決定するには、予算への影響と薬価および患者さんへの薬剤の届きやすさとのトレードオフに基づく政治的な選択が必要となります

- アプローチ 1：予算または専用債券による資金調達:
 - 資金源は、通常予算、または専用の「10年物債券」の発行が考えられます
 - JFRDRは年間の利息（現在は2%強）を支払いますが、政府は元本の返済義務を負うこととなります
 - カリフォルニア・モデル(CIRM)の事例：当初、州政府から10年間にわたり年間3億ドルが投じられたCIRMの例にならい、年間予算への影響を最小限に抑えるため、返済期間を長期(CIRMの場合は35年)に設定することも可能です
- アプローチ 2：財政投融資（FILP）のロジック
 - 長年確立されている財政投融資(財投)の考え方に基づく手法です
 - 政府保証債による資金を原資として、ハイリスクかつ長期間を要するため民間では困難だが、将来的には収益が見込める投資に対し、長期貸付を行います
 - JFRDRは債券利息を支払い、定められた期間後(多くは数十年後)に元本を返済します
- JFRDRにおける見通し
 - 収益を生むプロジェクト・ポートフォリオを構築するには長い年月を要するため、初期段階からのコストを全額返済するには20年以上かかる見込みです
 - 経常的な支出（運営費など）をカバーできる段階に達するには、10年から15年を要すると考えられます

Sources: <http://dx.doi.org/10.5966/sctm.2011-0049>; National Academies: The California Institute for Regenerative Medicine: Science, Governance, and the Pursuit of Cures, 2013

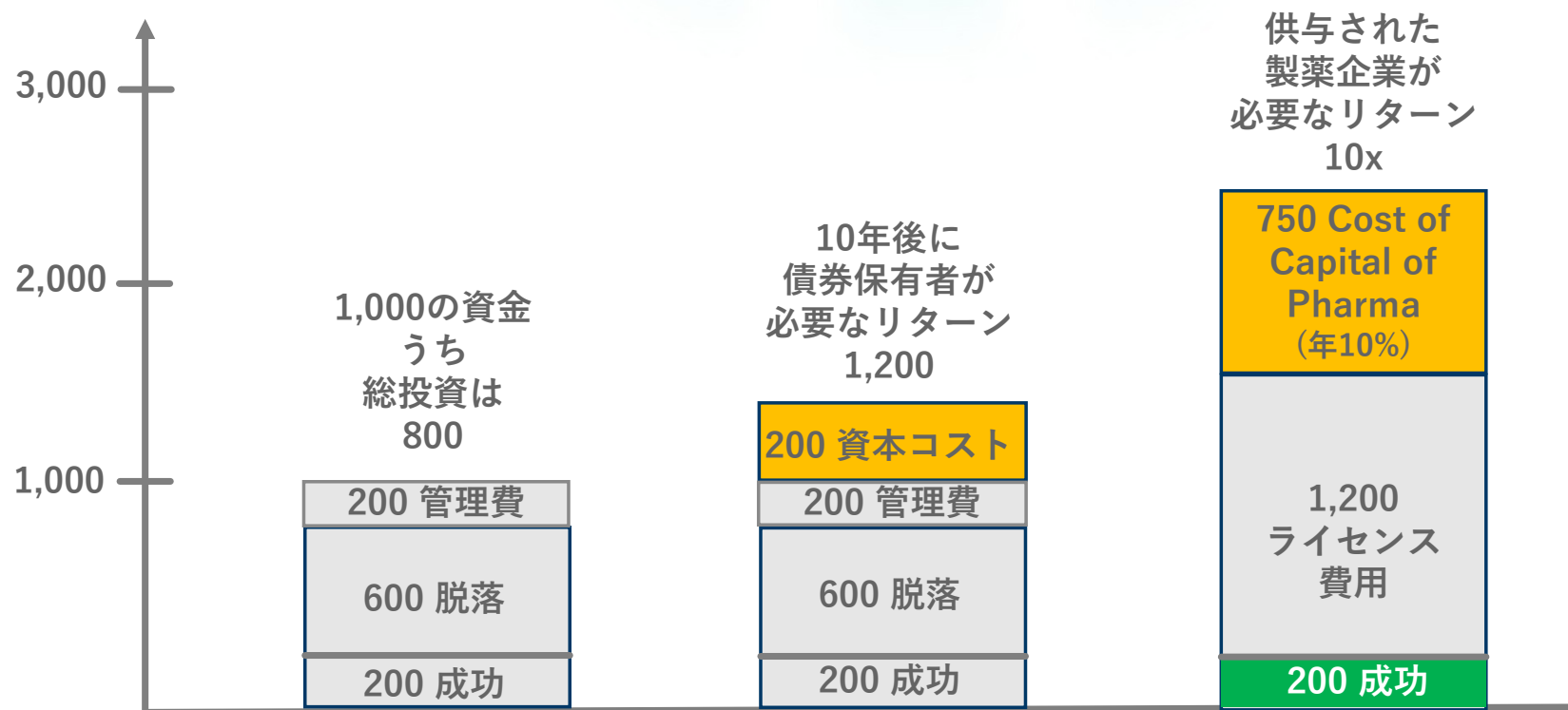
アプローチ 1: JFRDRが債券の利息を支払い、元本については政府が資金を負担するという前提に立つと、JFRDRは成功した薬剤のライセンスを'200'で製薬企業へ供与することが可能になります
 その場合、製薬会社側は資本コストを回収するために、10年間で'325'の売上を創出する必要が生じます

非常に簡素化された
試算です



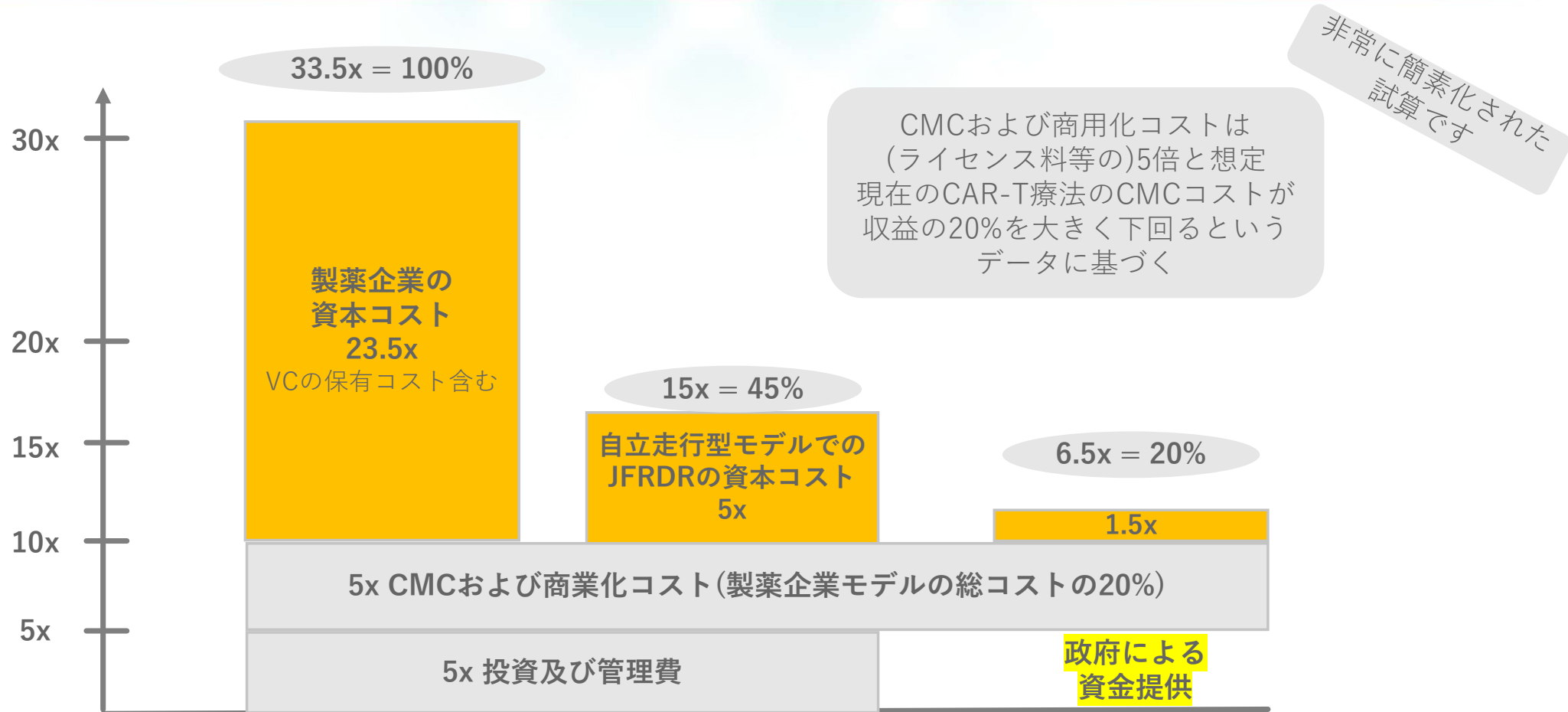
アプローチ 2: 自立走行型モデルにおいては管理費は発生しますが、経営陣への成功報酬は発生しません。このモデルで薬剤を製薬企業へ1,200(億円/ドル等)でライセンス供与した場合、債券の利息を含めた元本の返済が可能となります

非常に簡素化された
試算です



Note: この分析はM&Aを想定したものです。一時金、マイルストーン、ロイヤリティの支払いで構成されるライセンス契約の場合、資本コストはより低く抑えられる可能性があります

結論として、CMCおよび商業化コストが同一であり製薬企業が買収に基づき販売を行うという同条件下での比較において、JFRDRが開発した薬剤の価格は、従来のVCモデルと比較して20%から50%にまで抑えることが可能です



目次

- バイオファーマ・イノベーションの経済学
- 超希少疾患のビジネスモデルの限界に対処する新たなモデル
- JFRDR – 日本及びその先の患者さんのために
- **なぜ、JFRDRが必要なのか**



JFRDRの設立によって 日本のステークホルダーと海外の患者さんの双方にメリットがあります

患者さんとそのご家族

治療薬が届く患者さんのが増え、疾患修飾や完治につながる治療の一部が提供される

資金供出企業

企業レピュテーションの向上

イノベーションエコシステム

iPS細胞に留まらないアカデミアや病院での能力構築、新規モダリティのためのCMCインフラの整備、海外の研究者や投資家にとっての魅力向上、最終的には、付加価値の増大と税基盤の拡大、バイオ医薬品の輸入減・輸出増、そして薬価の抑制につながる

世界中の患者とその家族

超希少疾患の治療薬において、患者さんがアクセス可能な製品数が増加する

アカデミア

研究・開発能力が向上し、論文発表の機会の増加
および患者さんへの治療機会の拡大

産業界

製品供給によりリスクが低減され、国内インフラ、資材、設備ならびにアカデミア・病院・CRO等における能力の向上

