

精密医療が切り拓く治癒の未来

(On the Cusp of a Cure)

アジア太平洋地域は精密医療の時代を迎える準備ができているか？



精密医療が切り拓く治癒の未来

(On the Cusp of a Cure)

アジア太平洋地域は精密医療の時代を迎える準備ができているか？

謝辞

L.E.K.コンサルティングは、本報告書の作成にあたり、貴重な見識を提供して下さった諮問委員会のメンバーの皆様にご心より感謝申し上げます。特に、メンバーの皆様のご協力により、精密医療の導入に際して直面する障壁の評価と、それらの障壁に対処するための具体的な提言を得ることができました。

氏名(敬称略 順不同) 役職

所属

オーストラリア

David Thomas	最高科学責任者	Omico
Jaala Pulford	取締役会長	MTPConnect
Christine Cockburn	最高経営責任者	Rare Cancers Australia

中国

Baorong Yu	教授	University of International Business and Economics
Andy Mok	General Manager	China Guardant Health
Kevin Huang	アドボカシー会員	China Organisation for Rare Diseases
Zhou Caicun	キーオピニオンリーダー	Lung cancer

日本

香取 照幸	代表理事 特任教授	一般社団法人未来研究所臥龍 兵庫県立大学大学院社会科学部研究科
佐藤 大介	教授	藤田医科大学大学院
武藤 学	教授	京都大学大学院医学研究科
三宅 正裕	教授	京都大学病院
桜井 なおみ	創設者兼最高経営責任者	キャンサー・ソリューションズ株式会社
清水 佳佑	リーダー	肺がんHER2「HER HER」

韓国

Paul Lee	前 GM	Gilead Sciences Korea
Jin-Ah Kim	希少疾患のサポーター	Korean Organization for Rare Disease
Jeonghoon Ahn	教授	Ewha University

この報告書は Johnson&Johnson の支援を受けて作成されました。調査および執筆に関しても Johnson&Johnson の支援を受けていますが、内容の議論については独立して実施されており、執筆者の公平な分析と結論を反映したものです。

免責事項

本書は情報を提供するものであり、説明のみを目的としています。したがって、作成された文脈と目的を考慮する必要があります。いかなる受領者もこれに依拠することはできません。本書を受領することで、L.E.K.Consulting Pte Ltd およびその関連会社、メンバー、取締役、役員、従業員および代理人（総称して「L.E.K.」）が、本報告書または使用に関連、またはこれに起因する、契約、不法行為（過失を含む）、法定義務違反、その他の行為に関する義務または責任を、お客様または第三者に対して負わないことに同意したものとみなします。

L.E.K. は、お客様または第三者が本報告書を信頼、または使用した場合に発生するいかなる損失、損害、費用に関しても、お客様または第三者に対して責任を負わないものとします。本報告書は、お客様または第三者の責任において受諾します。

目次

エグゼクティブサマリー	4
1.0 イントロダクション	11
1.1 医療技術の進化と精密医療の登場	12
1.2 精密医療市場とその成長ドライバー	14
1.3 本報告書における精密医療の定義	16
1.4 報告書構成と方法論	21
2.0 日本における機会、課題と提言	23
2.1 市場背景	24
2.2 精密医療のもたらすベネフィット	25
2.3 新しい精密医療へのアクセス課題	32
2.4 新しい精密医療へのアクセス改善に向けた提言	37
3.0 付録	41
参考資料	48

エグゼクティブサマリー

診断技術、ビッグデータ、人工知能（AI）における革新の結果、今後10年間にわたり、疾患治療の方法や患者への医療提供のあり方は劇的に変化することが予想される。ゲノムプロファイリングのような最先端の科学技術の進歩により、疾患の原因に対する理解が深まり、研究者は患者の治療適性と予後をより正確に予測できるようになっている。

ゲノムプロファイリングのような最先端の科学技術の進歩により、疾患の原因に対する理解が深まり、研究者は患者の治療適性と予後をより正確に予測できるようになっている。

近年の技術進展により、医療は大きな転換期を迎えている。現在、医療の現場では「精密医療の時代 / Precision Era」への移行が進んでおり、患者の治療のあり方が根本的に再定義されつつある。この新たな時代においては、従来のように症状を緩和するための汎用的な低分子治療薬や、慢性疾患を管理するための継続的な服薬といった治療から脱却し、個々の患者の状態や疾患に合わせて最適化された、高精度かつ根治を目指す治療が中心となっている。私たちは、この革新的な新しい治療の潮流を「精密医療」と位置付けている。

精密医療は、今後10年間で急速な成長が見込まれており、もはや未来の話ではなく、既に多くの国や地域で患者に提供されている。今後5年間で多くの新たな精密医療製品の上市が期待されており、例えば細胞・遺伝子治療だけでも、現在開発中の治療法は約4,000¹件にのぼる。我々がここでとりあげる「精密医療」には細胞・遺伝子治療をはじめとする以下のような多様な技術領域を包含している：

- **細胞治療**：患者に遺伝子改変されたヒト細胞を移植・投与することで病気を治療
- **遺伝子治療**：疾患の原因となるDNA変異を修復し、病気を治療・予防

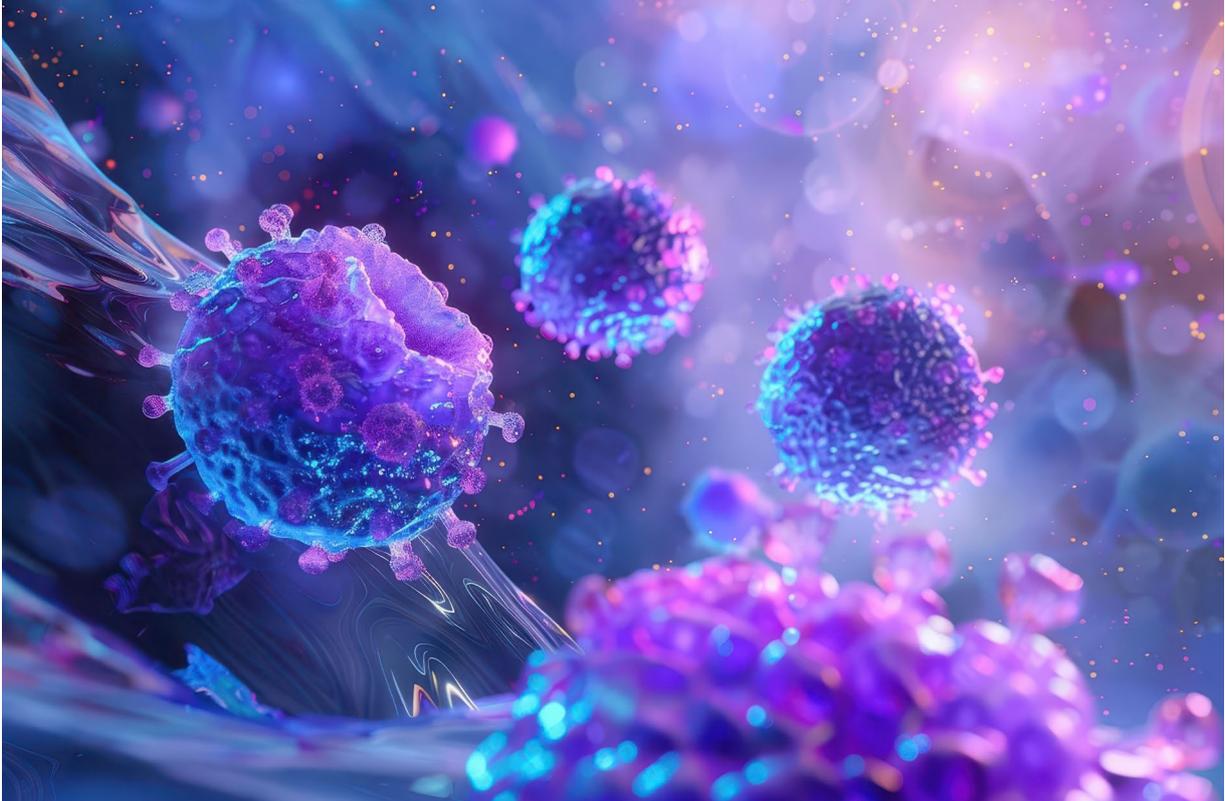
- **抗体標的治療**：がんや自己免疫疾患など、様々な疾患に対して、遺伝子プロファイリングのような革新的な診断技術と併用し、特定の標的に絞って治療を行う
- **薬物-デバイス併用療法**：薬剤を腫瘍細胞に直接届けることで、投与量や副作用、健常細胞への影響を最小限に抑える
- **包括的ゲノムプロファイリング（CGP）などの診断技術**：遺伝子治療や抗体標的治療の対象となる特定の患者層を特定するために活用

これらの技術はいずれも、個別化医療を通じて患者の健康上の利益を大きく向上させるものであり、従来型の治療アプローチから「精密医療の時代」への明確なパラダイムシフトを示している。また、これらの分野は現在、大規模な研究開発と投資の中心となっており、今後5~10年の間に数多くの新規治療法が上市されることが期待されている。近年の精密医療の急速な発展により、多くの専門家は、これまで治癒不能とされてきた多くのがんや遺伝性疾患に対して「治癒の入口 / Cusp of Cure」にあると指摘している。

精密医療は、患者のみならず、その家族・介護者、医療システム、さらにはより広範な社会経済にも大きなベネフィットをもたらすと考えられている。本レポートでは、こうした幅広い利点について、先駆的な独自調査に基づき詳細に解説している。他の多くの革新的技術と同様に、精密医療の価値を最大限に引き出すためには、医療全体の仕組みを一体的に見直す必要がある。具体的には、支払い制度、医療設備、医療従事者のスキルや教育体制、患者の診療から治療までの流れなど、様々な分野での連携した見直しが求められる。本レポートでは、精密医療の普及や価値最大化を妨げている主要な課題を特定し、それらに対応するための具体的な提言も提示している。



「患者視点での精密医療へのアクセス課題について」



現在、がんにおける精密医療は、私たち多くの患者に希望をもたらしています。特定の遺伝子変異を発見することで、早期にがんゲノム医療や臨床試験に参加する道が開き、私のように命を救われる可能性もあります。しかしながら、すべての患者がこの恩恵を受けられるわけはもちろんなく、遺伝子に特化した私の患者会や周囲では、今もなお旅立っていく方々があります。精密医療には大きな希望の光がある一方で、それを享受できない患者にとっては、絶望や不安の影も存在しているのが現実です。

日本国内においては、現在がんの遺伝子パネル検査が行われる時期が遅いことや遺伝子変異が判明しても臓器別にコンパニオン診断薬が承認される為、がん種によっては治療や治験に繋がらないこと、また遺伝子検査結果に基づいた治療や臨床試験の情報が、全ての患者に

渡っているわけではないという課題も存在します。命を繋げる治療の可能性がありながらも、その機会を得ずに治療が進まない患者がいるのは、大きな問題です。

このような現状を踏まえ、遺伝子に基づいた臓器横断的なゲノム医療の開発や、早期段階での遺伝子パネル検査の実施、全ゲノム解析のさらなる進展を強く望んでおります。これにより、患者の不安や悩みを少しでも軽減し、さらには国民全体の命や健康に繋がるより良い医療が実現されると信じています。

私たち患者も、多くのステークホルダーと協力しながら、誰もが正しい治療にアクセスできる未来を共に目指していくことが重要です。精密医療の発展は、すべての命を助け、守るための大きな一歩であり、患者にとって、より良い医療の未来となることを期待しています。

-清水 佳佑, 肺がんHER2「HER HER」リーダー

¹ Australian Government Department of Health and Aged Care, 2024. Minister for Health and Aged Care press conference – 28 August 2024. [online] Available at: <https://www.health.gov.au/ministers/the-hon-mark-butler-mp/media/minister-for-health-and-aged-care-press-conference-28-august-2024>

L.E.K.の調査と分析では、精密医療の4つの主要分野（細胞療法、遺伝子治療、抗体療法、薬物-デバイス併用療法）における1,000件以上の臨床試験データを活用した。

分析の結果、このような精密医療のもたらす恩恵は、治療をうける患者本人に留まらず、広範な社会経済に対しても多様な利点をもたらすことが示されている。

これらの利点には、当該国における医療費の削減、研究開発活動の活性化、医療提供体制の改善や医療従事者のスキル向上などが含まれ、医療分野への投資拡大と生産性向上が期待できる。さらに、ヘルスケア業界におけるイノベーション推進はあらたな雇用を創出し、経済全体にも幅広い恩恵をもたらされるであろう。

分析の結果、このような精密医療のもたらす恩恵は、治療をうける患者本人に留まらず、広範な社会経済に対しても多様な利点をもたらすことが示されている。

また、このような直接的な利点に加えて、精密医療がそれを必要とする幅広い患者にとってアクセス可能なものになれば、社会経済に対する間接的乗数効果も期待できる。ここでいう乗数効果とは、医療分野における初期投資が様々な産業分野に波及し、さらなる経済活動が刺激され雇用が増加することを意味する。効果的な予防、治療/治癒が実現できれば、患者本人やそ

の介護者が社会復帰し、経済的な生産活動に貢献することが可能になる。

しかし現在、各国市場において精密医療への患者アクセスは制限されており、上記のような潜在的ベネフィットの実現はいくつかの具体的な障壁によって妨げられている。

L.E.K.は、本報告書を通じて精密医療の潜在的ベネフィットを明らかにし、その患者アクセスを高めるにあたっての障壁と、これらの障壁に対処できるソリューションを提言としてとりまとめることを、同社の体系的なアプローチを用いて試みた²。製薬企業、政策・医療経済専門家、医療従事者、患者団体との協議を通じて、オーストラリア、中国、日本、韓国の4つの主要アジア太平洋（APAC）市場を対象に検討を行った。日本における具体的な検討結果は次のページのサマリーおよびより詳細な本編を参照頂きたい。

以下の図に示すように、精密医療は、すべての日本国民および日本経済にとって、莫大な健康上および経済上のベネフィットをもたらす。こうしたベネフィットを実現するためには、産業界、政府、臨床医、医療従事者全体、研究者、投資家といったすべての関係者が連携し、協調して取り組むことが不可欠である。

このような協調的な行動が取られなければ、医療費は今後ますます増大し、社会的公平性と正義が損なわれ、日本国民にとって十分な健康的成果が得られなくなるおそれがある。

日本

精密医療のもたらすベネフィット（今後10年間）



150万人以上

の患者の治療アウトカムが改善する（精密医療に関連する診断支援、臨床試験へのアクセス改善を含む）

8,600億円以上

の医療費が削減される（継続的・対症療法的な治療が、より効果的な治療や治癒に置き換わることによって実現する）

17兆円以上

の研究開発・製造領域における直接投資が発生する
また、医療従事者が新しいスキルや専門知識を習得

100兆円以上

の経済波及効果が期待され、更に患者・介護者の社会復帰を通じて25万人の雇用が創出される

² Jackson, Stuart and Trakhtenberg, Ilya, 2025, Predictable Winners, Stanford University Press

日本

精密医療へのアクセスに関する課題解消に向けた提言



技術革新に応じた承認・保険制度の進化：

- 新しい医療パラダイムに即した規制・保険制度の見直し
- 「精密医療」の個別性に応じた価値評価方法の検討
- 革新的医療技術の価値評価体制の強化



コンパニオン診断薬/包括的ゲノムプロファイリングの保険適用規制の緩和：

- コンパニオン診断薬の互換性評価の推進
- 包括的ゲノムプロファイリングの実施・保険適用の規制緩和



革新的医薬品の保険外利用における障壁緩和：

- 保険外併用療養費制度のあり方の再検討
- 未承認薬に対するコンパニオン使用の利用環境改善



革新的精密医療の研究体制の強化：

- セクターや国境を越えたオープンイノベーションの推進
- 精密医療の研究開発体制の強化
- 治験における患者リクルーティングの効率化
- 医療・ゲノムデータ基盤の整備と研究開発への利活用推進

地域展望

アジア太平洋地域レベルでは、今後 10 年間で精密医療に関連して研究開発～製造への経済投資が行われることで医療費の大幅な削減が期待される。重要なこととして、これは数百万人もの患者に利点をもたらすことになる。

今回の調査は、アジア太平洋地域における精密医療のシステム全体への恩恵を評価した、初めての試みである。特にオーストラリア、中国、日本、韓国の4か国に焦点を当てている。

- 今後10年間で、4つの市場全体で約**4,500億米ドル**の経済投資が見込まれる
- 約**120万人**の雇用創出
- 初期成長が他の分野にも波及し、経済活動を刺激することで波及効果が生まれ、最終的には約**1兆6,150億米ドル**の経済成長に寄与する見込み

- **2,400万人を超える患者および介護者**による労働市場への参画拡大

本レポートでは、将来の患者数や治療のあり方について保守的な前提に基づいて推計を行っているため、今後さらに多くの治療法が市場に投入され、革新的な治療がより早期の段階で患者に提供されるようになれば、実際のインパクトは本レポートの予測を上回る可能性が高い。

今後10年間で、研究開発、診断、製造分野への経済的投資の可能性に加え、医療費削減の大きな可能性も期待されている。



精密医療のもたらすベネフィット (今後10年間の累計)

	オーストラリア	中国	日本	韓国
成果の向上	患者数 25万人	患者数 1,050万人	患者数 150万人	患者数 40万人
研究開発、診断、 製造への投資	500億豪 ドル以上 320億米ドル	1.45兆中 国元以上 2,000億米ドル	17兆円 以上 1,100億米ドル	61兆ウォン 以上 440億米ドル
回避された医療費	26億豪 ドル 17億米ドル	2,160億中 国元 300億米ドル	8,600億円 57億米ドル	2.2兆ウォン 16億米ドル

本報告書で評価されたアジア太平洋地域の4つの市場は、精密医療へのアクセス改善を進めるうえで、ある程度共通する課題に直面している。

共通の障壁

1 一つ目は、医療のパラダイムシフトをもたらす精密医療の価値を適切に評価するための**薬事規制と保険償還の枠組みを欠いていることが挙げられる**。これにより、革新的な精密医療の承認・保険償還が遅延あるいは頓挫し、それを必要とする患者による精密医療へのアクセスが遅れ、あるいはそのような医療を享受するための患者の（もしくは医療機関の）自己負担額が増加することで適切な治療選択ができない状況に陥る。また、製薬会社にとってはその市場に革新的な治療法を持ちこむのがますます難しくなっている。

2 二つ目は、精密医療という新しい医療アプローチとそれがもたらす広範なベネフィットに対して**患者や医療提供者の認識が必ずしも高くないことが挙げられる**。これにより、現場の医師が患者に対して新しい革新的治療法を案内することを躊躇あるいはその機会を逸してしまい、また患者としてもその意義や価値を誤解することで、結果として患者の治療アクセスが困難になる可能性がある。

3 最後に、これらの革新的な治療法への患者アクセスをサポートするための**重要な医療インフラ投資が不足していることが挙げられる**。アジア太平洋地域の患者が参加可能な臨床試験の件数増加とアクセスの向上、新しい治療法や臨床試験に関する情報へのアクセス向上、研究開発への医療情報/ゲノムデータの活用促進、精密医療開発に関連する研究開発活動の支援強化などが求められている。

一般的なソリューション

第一に、**精密医療の潜在的価値を適切にとらえた薬事規制・保険償還システムを開発すること**。適切な診断技術へのタイムリーな患者アクセスを可能にすること、革新的な診断・治療法に対してその包括的な価値を反映した適切な価格設定がなされること、また保険償還制度を通じてこれらの医療技術利用における経済的な障壁を軽減することがここには含まれる。

次に、**医療従事者や患者、より広範な一般市民において精密医療についての正しい認識を高めること**。特に、医療従事者に対して精密医療に関する臨床ガイドラインや医療情報を適切に提供し、患者団体とも協力しながら精密医療の一連の複雑な流れにおいて患者を適切にガイドできるようにすることが求められる。

最後に、**産学官医の横断的連携の症例を通じて、研究開発におけるイノベーションと臨床実装を促進すること**。このような連携を通じて、革新的な治療法や診断技術の研究開発投資が促進され、各国における精密医療へのアクセスが向上し、現地の医療提供体制とそれに携わる人材の能力開発が進むことが期待される。

アジア太平洋地域の4つの市場（オーストラリア、中国、日本、韓国）が精密医療のもたらし得る多くのベネフィットを享受するためには、この報告書でとりまとめる提言について、政府・規制当局、産業界、医療従事者、患者団体が協力して速やかに取り組んでいく必要があると考える。





1.0
イントロダクション

1.1 医療技術の進化と精密医療の登場

20 世紀の大部分において、医療技術の革新は症状管理（症状軽減や悪化遅延）に重点を置いていた。ペニシリンに代表される一部の医学的発見は多くの命を救ったものの、それ以外の多くの技術革新は患者に根本的な治療を提供するのではなく、症状悪化の抑止と幾ばくかの延命を提供するに留まるものであった。

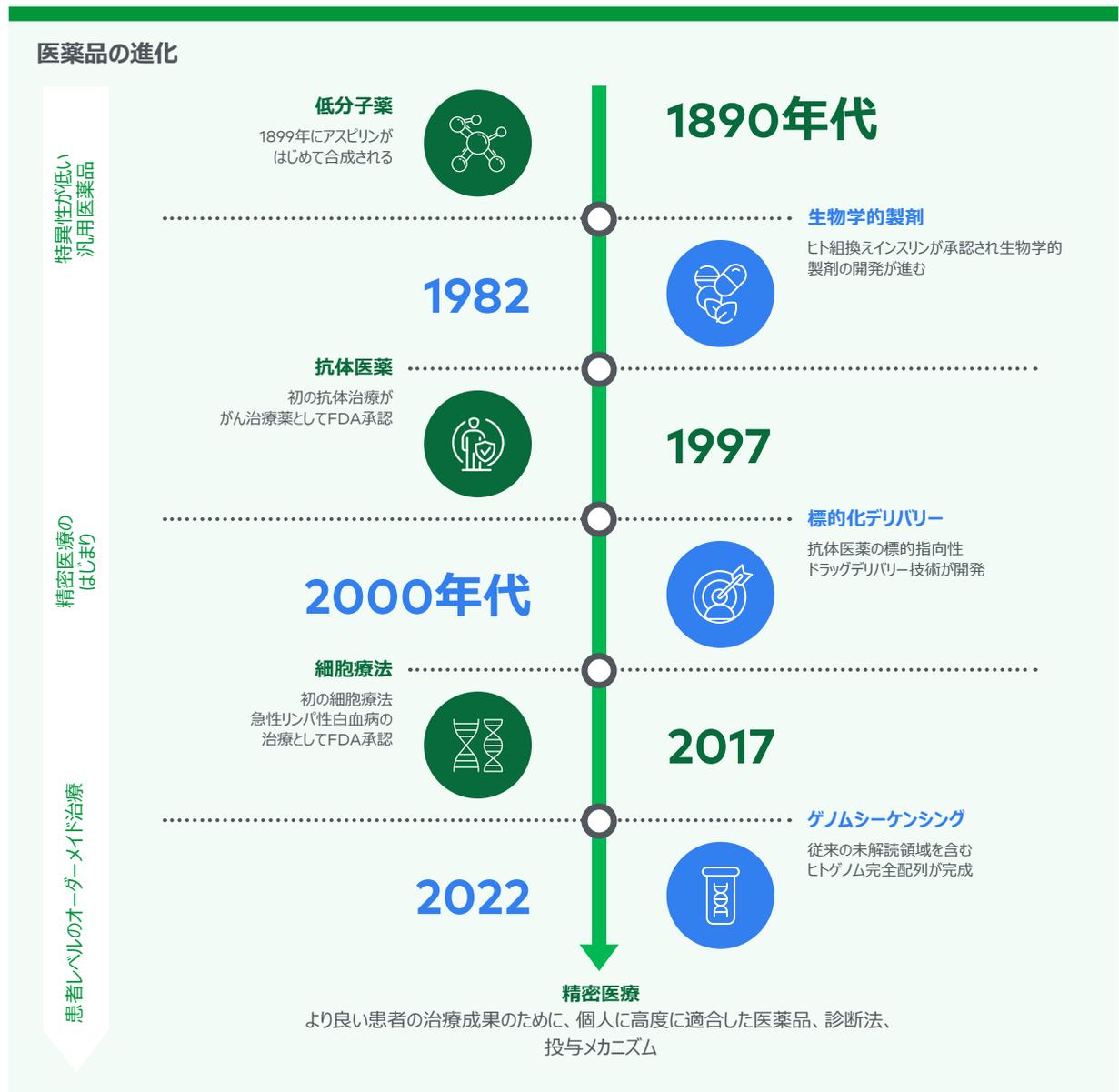
しかし、過去 30~40 年間、技術の飛躍的進歩やヒトゲノム解読をはじめとする生物学的理解の進化によって、医学の進展は加速度的に進んできた。20 世紀後半には、生物由来の成分を用いた生物学的製剤が開発され、従来の治療法よりも効果的に疾患症状に対処できるようになった。21 世紀に入ると、次世代の治療法としてモノクローナル抗体を含む免疫療法が登場した。これらの治療法は、身体の免疫システムを活性化し、病気に対する自然な防御機構を強化することで疾患に立ち向かうものである。このような医学の進歩は、従来の治療法では対処できなかった難治性疾患への新たな光をもたら

らし、患者の Quality of Life の向上や生存期間の延長に大きく貢献している。

最近では標的細胞や特定の組織を特異的に狙う薬剤投与技術が進化し、抗体療法の効果が大幅に改善された。これにより、副作用の軽減が実現され、患者は従来の治療法に比べてより多くの自由を享受できるようになった。

また、過去 5 年間で、ヒトゲノム配列が完全解読され、病気を引き起こす遺伝子変異を同定・編集するツールが登場するなどの技術革新が進み、医療・ヘルスケア進化は大きく加速した³。

過去 5 年間で、ヒトゲノム配列が完全解読され、病気を引き起こす遺伝子変異を同定・編集するツールが登場するなどの技術革新が進み、医療・ヘルスケア進化は大きく加速した³。



こうした飛躍的な技術進歩は、医療のありかたに革命をもたらしている。従来の治療法とは異なり、新たながん治療は個々のゲノム情報やデータに基づいてよりパーソナライズされ、これまで治療が困難とされてきた疾患に対しても、疾患ごとに特化した根治の可能性を提供しつつある。これにより、臨床医は患者ごとに最も効果的な治療法を選択・適用することが可能となり、「精密医療の時代」の幕開けを迎えている⁴。

疾患の負担が増大する中で、こうした技術革新の重要性は一層高まっている。現在、個別化医療・精密医療は、医療分野における新たな標準（ゴールドスタンダード）として確立されつつあり、特にアジア太平洋地域を含め世界全体における主要な死因である「がん」の治療が、その最大の焦点となっている⁵。2024年には、世界中で2,000万人以上ががんと診断され、1,000万人以上ががんによって死亡すると見られている。がんの有病率は急激かつ持続的に上昇している⁶。

このような技術革新が継続すれば、将来的には継続的な投薬や定期的な治療が不要になる可能性がある。代わりに、高度に個別化された細胞療法や遺伝子治療が、疾患の進行を大きく遅らせるか停止させ、その治療/根治や予防を可能にする一生に一回限りの治療法として確立されるかもしれない。

今後5~10年にわたり、製薬・バイオテック業界では、特にがん、免疫疾患、神経系疾患の分野において、精密医療の導入が急速に拡大すると期待されている。細胞療法および遺伝子治療だけでも、現在世界中で約4,000種類の治療法が開発中である⁷。

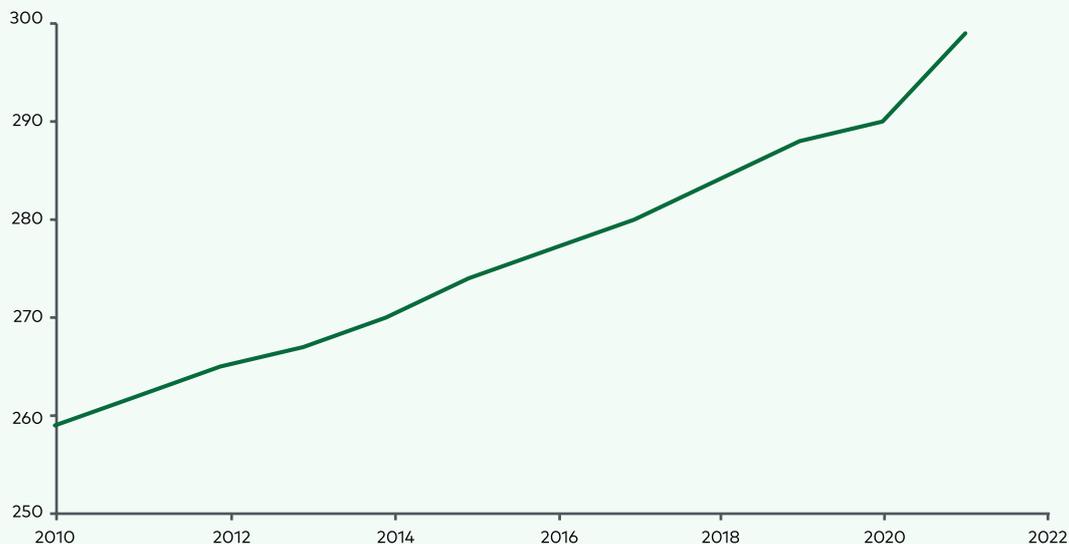
また、精密医療は、上記領域以外の希少疾患や遺伝性疾患にも応用されている。個々の希少疾患は人口10,000人に対して5人未満など非常に低い有病率であるものの、全体としては世界人口の約8%に影響を及ぼしている⁸。これらの疾患は、多くの場合、進行性であり治療が困難で、患者のQuality of Lifeや余命に大きな影響を与えている。

精密医療は、これまで治療不可能とされてきた疾患に対する標準治療法や治療選択肢を大幅に進化させ、新たな希望をもたらしている。

このような技術革新が継続すれば、将来的には継続的な投薬や定期的な治療が不要になる可能性がある。代わりに、高度に個別化された細胞療法や遺伝子治療が、疾患の進行を大きく遅らせるか停止させ、その治療/根治や予防を可能にする一生に一回限りの治療法として確立されるかもしれない。

世界のがん罹患率（2011-2021年）

100,000人あたりの罹患数



³ National Institutes of Health (NIH), 2022. Researchers generate the first complete, gapless sequence of a human genome. [online] Available at: <https://www.nih.gov/news-events/news-releases/researchers-generate-first-complete-gapless-sequence-human-genome>

⁴ National Institutes of Health (NIH), 2022. Researchers generate the first complete, gapless sequence of a human genome. [online] Available at: <https://www.nih.gov/news-events/news-releases/researchers-generate-first-complete-gapless-sequence-human-genome>

⁵ Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME), 2024. Global Burden of Disease (GBD) Data. [online] Available at: <https://www.healthdata.org/research-analysis/gbd-data>

⁶ Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME), 2024. Global Burden of Disease (GBD) Results. [online] Available at: <https://vizhub.healthdata.org/gbd-results/>

⁷ Australian Government Department of Health and Aged Care, 2024. Minister for Health and Aged Care press conference – 28 August 2024. [online] Available at: <https://www.health.gov.au/ministers/the-hon-mark-butler-mp/media/minister-for-health-and-aged-care-press-conference-28-august-2024>

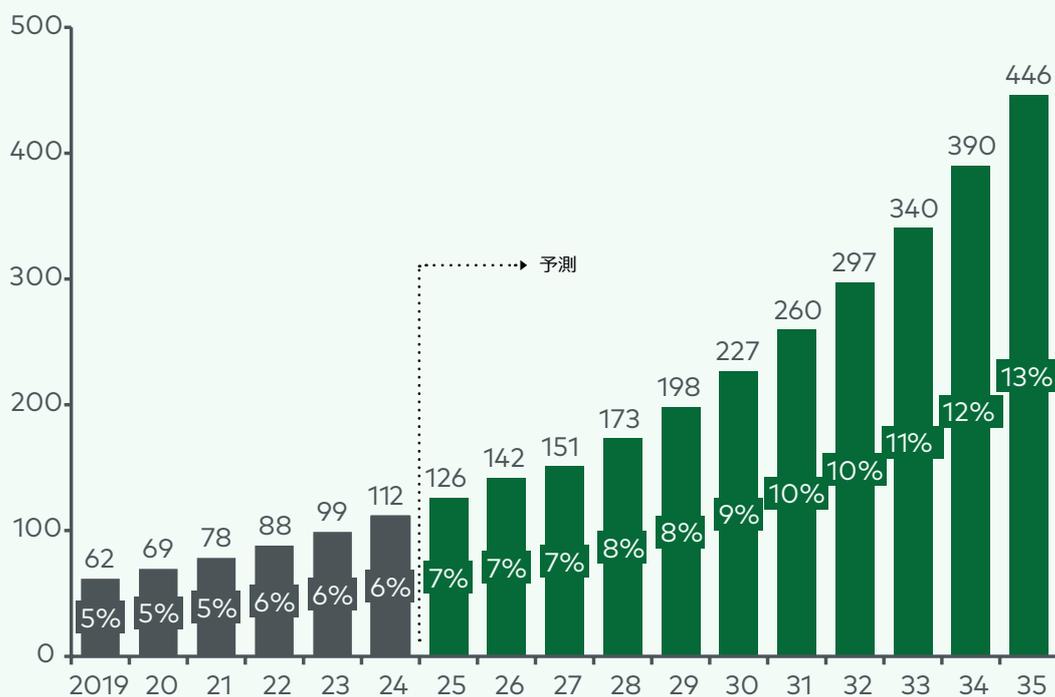
⁸ European Commission, 2024. Rare diseases. [online] Available at: https://health.ec.europa.eu/rare-diseases-and-european-reference-networks/rare-diseases_en

1.2 精密医療市場とその成長ドライバー

精密医療は、世界全体で年平均 14.5% の成長が見込まれており、2035 年までに 4,460 億米ドルに達すると見込まれている。これは医薬品市場全体の年平均成長率 6.6% を大きく上回る水準である^{9, 10}。

世界の精密医療の市場規模（2019-2035年）

10 億米ドル（製薬市場における割合）



出典：Statista, The Global Use of Medicines 2024: Outlook to 2028; L.E.K. analysis

⁹ Statista, 2024. Global spending on precision medicine treatments from 2020 to 2027. [online] Available at: <https://www.statista.com/statistics/1420946/spending-on-precision-medicine-treatments-globally/>

¹⁰ IQVIA, 2024. The global use of medicines 2024: Outlook to 2028. [online] Available at: <https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/the-global-use-of-medicines-2024-outlook-to-2028>

いくつかの要因が精密医療の急速な成長を牽引している。



アンメットメディカルニーズ

- 遺伝的原因は特定されているものの病態生理が複雑または不明確であり、効果的な治療法が開発されていない希少疾患が多い
- がんの標準治療は化学療法によるものが中心であり奏効率が低い



生物医学研究の発展

- 患者のアウトカム改善を目指した、バイオマーカー探索と精密医療開発への研究開発投資の増加



診断技術の進歩

- バイオマーカーを活用した高度診断技術の進展（NGS等）
- 精度診断のユースケースの拡大：特に、がん領域においては、分子検査／遺伝子検査が後期治療のガイドランスから、疾患のスクリーニングや治療後の予後管理まで応用範囲を拡大



ビッグデータとAIの進歩

- 医学研究における発見や、臨床における疾患および治療アウトカムの予測を支えるビッグデータの活用可能性の拡大



医療政策の進化

- 精密医療の恩恵を最大限に引き出すために検査へのアクセス向上が不可欠であるという認識の高まり
- ガイドラインの対象拡大により、精密医療が適用可能な疾患や患者層が増加

これらの技術的進歩に対応して、医療システムは患者がこれらの先端的医療技術にアクセスできるよう適応し進化する必要があります。

- **現場の臨床医**は、これらの革新的治療法を選択するタイミングと使用方法に関するトレーニングを必要とし、看護師など他の医療従事者は、こうした治療を受ける患者をサポートする方法を学ぶ必要がある。

- **規制当局**は、これらの革新的治療の安全性と有効性を適切に評価するための新しい方法論を検討する必要がある。旧世代の医療技術を前提とした従来モデルは最適ではない場合がある。
- **保険者は**、製薬業界と協力し、患者がこれらの人生を変えうる革新的治療を受けられるよう新しい償還モデルを検討する必要がある。

1.3 本報告書における精密医療の定義

「精密医療」という言葉には、その範囲や対象によって複数の解釈が存在する。最も広い定義では、単一のバイオマーカー検査を用いて、特定の患者に対する治療の適合性を評価する第一世代の生物学的製剤が含まれる。これらの治療法は過去 10 年間で広く臨床に導入されてきた。

しかし、本報告書では精密医療をより限定的に捉え、診断および治療のプロセスを高度にカスタマイズし、個々の患者に最適化されたアプローチを提供する新世代の治療法*1に焦点を当てる。一部の専門家は、これを医療の最先端であり、患者の治療成績や回復可能性において革新的な飛躍をもたらす技術と位置付けている。

具体的には、本報告書では以下の 4 つの先進的技術を取り上げる：細胞療法、遺伝子治療、標的抗体治療、および薬物-デバイス併用療法。これらの治療法において、コンパニオン診断薬を組み合わせることで、治療の恩恵を最大限に受けられる可能性の高い患者をより正確に特定することが可能になる。

*1 本報告書における「精密医療」の定義は、診断・治療の高度なカスタマイズに基づくアプローチとして定義しているが、一部の技術については定義上の位置付けに議論の余地がある。たとえば、標的抗体治療やADC（抗体薬物複合体）は疾患単位での治療最適化を目指すもので、個別の患者層別化という点では「精密医療」の定義に含まれないとする見解もある。本報告書では、こうした定義の揺らぎを踏まえつつ、今後の個別化医療の進展を示す主要技術として対象を選定した。

本報告書では精密医療をより限定的に捉え、診断および治療のプロセスを高度にカスタマイズし、個々の患者に最適化されたアプローチを提供する新世代の治療法*1に焦点を当てる。

本レポートで検討されたテクノロジー



細胞療法

患者またはドナーから採取した細胞を体外 (ex vivo) で加工・培養・遺伝子改変し、その後、細胞のもつ再生・免疫活性化特性を利用して治療効果を高めた形で患者の体内に再移植する治療法



遺伝子治療

患者の疾患を引き起こす遺伝子変異を標的とし、DNAやRNAを介して遺伝子を修正・置換・導入することで、疾患の治癒や予防、さらには症状の緩和を目的とする治療法



標的抗体治療

特定の細胞表面分子や受容体を標的とする抗体を利用し、免疫応答の活性化や薬剤の運搬を通じて疾患の進行を抑制、または病原細胞を死滅させる治療法：ゲノムプロファイリングやバイオマーカー解析と組み合わせることで、治療効果が期待できる患者を特定し、不適切な治療を回避することが可能となる



薬物-デバイス併用療法

医薬品と医療機器の特性を組み合わせることで、疾患治療の効果を高める統合型治療アプローチであり、既存の治療法の送達メカニズムが改善され、特定の疾患部位への効果的な薬剤送達や治療を可能とする



コンパニオン診断薬

特定の医薬品の効果や安全性を最大化するために、患者がその医薬品による治療の恩恵を受ける可能性があるか、または重篤な副作用リスクがあるかを判定するために使用される体外診断用医薬品

1.3.1 細胞療法

細胞療法（本報告書では特に Ex vivo 細胞治療に焦点をあてる）は、疾患の治療を目的として、改変されたヒト細胞を患者に追加または移植する治療法である。これらの細胞は通常、患者の体外で遺伝的改変が施された後に再導入される。その供給源は、患者自身（自家細胞）または健康なドナー（同種細胞）に由来することが一般的である。

現在の細胞療法市場は、主にキメラ抗原受容体 T 細胞（CAR-T）療法の技術革新によって牽引されている。CAR-T 療法は、多発性骨髄腫やリンパ腫といった血液がんに対する治療として注目されており、患者自身の免疫細胞を遺伝子改変し、腫瘍細胞を特異的に攻撃する能力を持たせる技術である。

近年、CAR-T 療法は次世代の技術として「オフザシェルフ（Off-the-Shelf）」治療法へと進化している。従来の CAR-T 療法は、患者ごとに個別に細胞を収集・改変・製造する必要があり、大きなコストと時間を要した。一方、オフザシェルフ治療では、健康なドナー由来の細胞を用い、あらかじめ遺伝子改変および標準化された製造プロセスを経て大量に準備された細胞を使用する。これにより、治療の即応性が飛躍的に向上し、患者ごとに個別の細胞製造を行うという制約が克服される。さらに、一つの製造ロットから複数の患者に細胞を提供できるため、治療のコスト効率やアクセス性の改善も期待されている¹²。

がん細胞除去のための CAR-T 療法¹¹

がん患者の血液から T 細胞を分離・回収



改変された CAR-T 細胞を十分な数まで培養し増殖



CAR-T 細胞が腫瘍細胞を特異的に攻撃



がん細胞を認識するキメラ抗原受容体 (CAR) を T 細胞表面に発現

CAR-T 細胞を患者に導入



¹¹ Cancer Gene Therapy, 2024. CAR T therapies in multiple myeloma: unleashing the future. [online] Available at: <https://www.nature.com/articles/s41417-024-00750-2>

¹² Memorial Sloan Kettering Cancer Center, 2024. Off-the-shelf CAR cell therapy for multiple myeloma shows promise. [online] Available at: <https://www.mskcc.org/news/shelf-car-cell-therapy-multiple-myeloma-shows-promise>

1.3.2 遺伝子治療

細胞内の主要な機能の多くはタンパク質によって担われており、これらのタンパク質は DNA に記録された遺伝情報を基に合成される。DNA に変異（誤字やエラー）が生じると、正しいタンパク質が作られず、細胞の機能が部分的または完全に失われることがある。この現象が、しばしば遺伝性疾患の原因となる。

遺伝子治療では、ベクターと呼ばれる輸送システムを用いて、治療用の遺伝物質を細胞内に届ける。ベクターとして最も一般的に使用されるのは、ウイルスベクターである。これらは自然界のウイルスを改変し、病原性を除去した上で、遺伝子治療の「運び手」として活用される¹³。

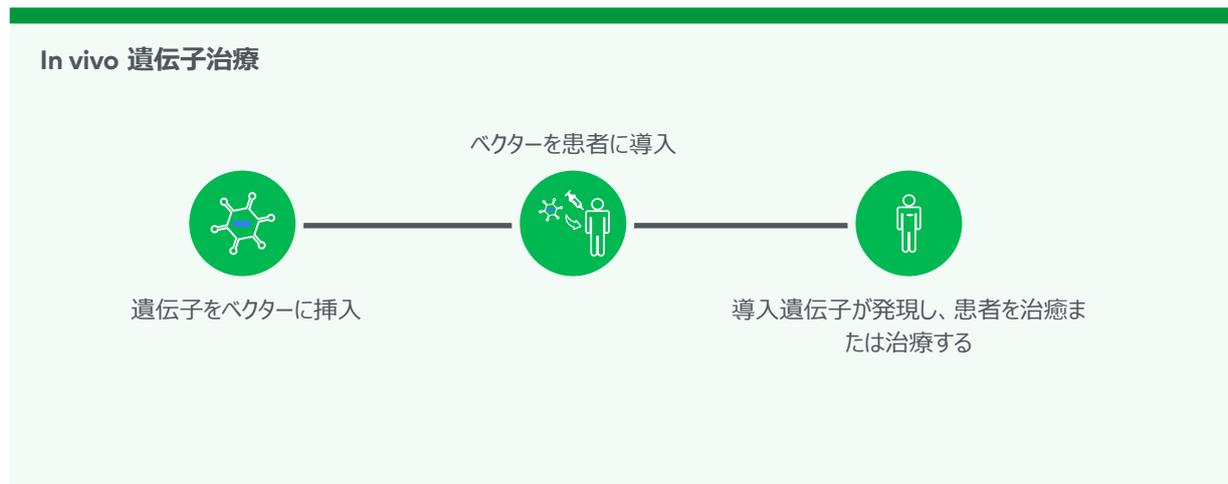
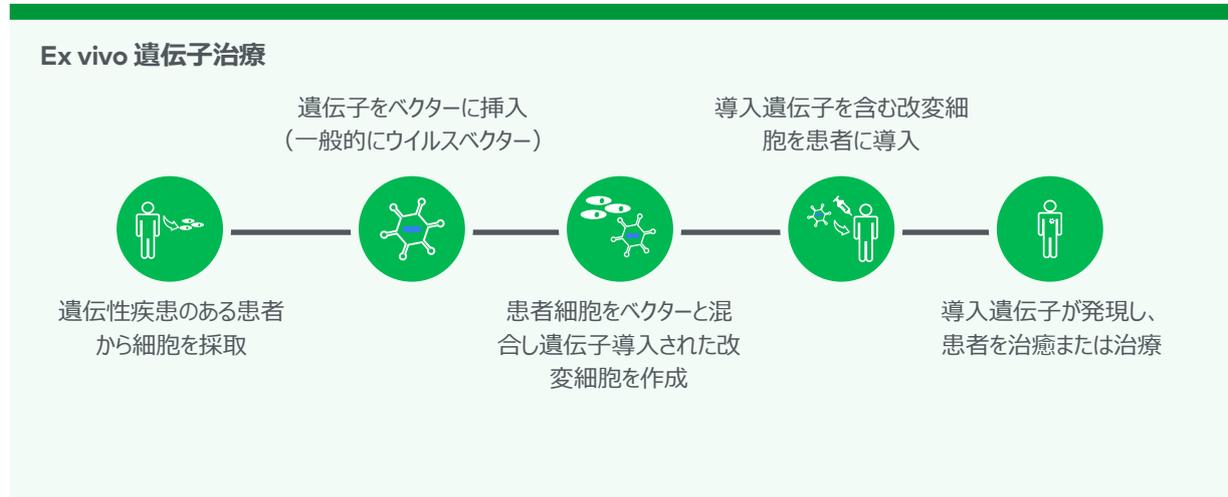
遺伝子治療には、以下の 2 つのアプローチが存在する。

Ex vivo 遺伝子治療：患者から細胞を採取し、体外でベクターを用いて遺伝子を改変した後、再び患者の体内に戻す。

In vivo 遺伝子治療：ベクターに治療用遺伝子を搭載し、患者の体内に直接投与することで、標的細胞に遺伝物質を届ける。

いずれの方法も、遺伝子変異を修正し、欠落している機能を回復させることを目的としている。遺伝子治療は、従来の治療では対処が難しい遺伝性疾患や特定のがんに対して、新たな治療の選択肢を提供する可能性を秘めている。

遺伝子治療によって治療される疾患の例としては、遺伝性網膜疾患、脊髄性筋萎縮、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、血友病などが知られており、その数は今後も増加していく見込みである。



¹³ American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT), 2024. Vectors 101. [online] Available at: <https://patienteducation.asgct.org/gene-therapy-101/vectors-101>

1.3.3 抗体治療

抗体療法は、がんから自己免疫疾患まで、様々な疾患に対する標的治療を可能にする治療法である。特に肺がん、結腸直腸がん、黒色腫などの固形腫瘍に対して広く使用されている。

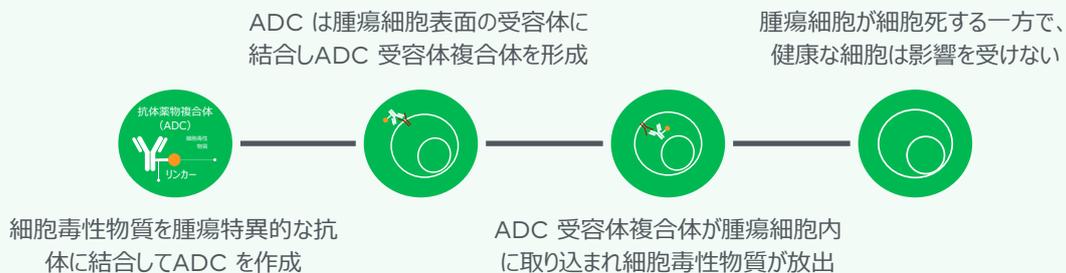
がん治療における抗体療法では、特定の腫瘍細胞を認識し、標的とする抗体を患者に投与する。この抗体は、腫瘍細胞に結合することで、それらの細胞を免疫細胞による攻撃の標的として識別させる役割を果たす。

さらに、抗体は特定の受容体に結合した際に薬剤を放出することも可能である。この技術は抗体薬物複合体療法 (ADC:Antibody-Drug Conjugate) と呼ばれ、抗体が毒

性物質を結合して標的細胞に運ぶことで作用する。抗体が腫瘍細胞に到達・結合すると、毒性物質が細胞内に放出され、腫瘍細胞が選択的に破壊される。

さらに最近の進歩として、放射線治療法が開発された。これは、放射性同位体が腫瘍細胞に特異的に結合する分子 (リガンド) に結合し、腫瘍部位に標的放射線を直接照射する技術である。この治療法により、周辺の正常組織への影響を抑えつつ、腫瘍細胞を効果的に破壊することが可能になった。抗体療法は今後も進化し続け、より精度の高い標的治療が期待されている。

抗体薬物複合体療法



1.3.4 薬物-デバイス併用療法による治療

薬物-デバイス併用療法製品は、様々な疾患や症状を持つ患者の治療に使用される。近年の薬剤および医療機器技術の進歩により、特に固形がんに対する低分子薬剤の送達方法に革新がもたらされた。

これらの技術を用いることで、薬剤を腫瘍細胞に直接送達することが可能となり、従来の治療法と比較して用量の最適化、副作用の軽減、および健康な細胞への損傷リスクの低減が実

現されている。さらに、多くの薬物-デバイス併用療法製品は埋め込み型デバイスとして設計されており、薬剤投与の期間や頻度を大幅に減少させることが可能である。

現在、これらの治療法は膀胱がん、前立腺がん、乳がん、および膵臓がんを含む、様々な固形がんの治療に応用されており、より精密かつ持続的な治療効果を提供している。

標的薬物送達メカニズムの例



化学療法剤をカテーテルを通じ患部である膀胱に直接送達



カプセル化された徐放性ホルモンをインプラント投与し腫瘍の成長を抑制



徐放性化学療法剤を含むウェア（基材）を手術で患者体内に挿入

1.3.5 コンパニオン診断薬

コンパニオン診断薬は、特定の治療法が患者に適しているかどうかを、患者ごとの独自のゲノムプロファイルやバイオマーカーに基づいて判断するための検査である。例えば、分子診断薬/

遺伝子検査や包括的ゲノムシーケンスは、患者の遺伝的変異を明らかにし、治療選択の指針となる貴重な情報を提供する代表的なコンパニオン診断薬である。

包括的ゲノムプロファイリング



腫瘍組織または血液検体を患者から採取



患者検体から得られたDNAを次世代シーケンシング技術(NGS)により解析



遺伝子変異やバイオマーカーを特定の分子標的治療薬の効果予測や適応判断に用いる

1.4 報告書構成と方法論

本報告書では、アジア太平洋地域の4つの主要市場（オーストラリア、中国、日本、韓国）を対象に、革新的な医療技術である「精密医療」が、患者、介護者、さらには地域社会にもたらす広範なベネフィットを紹介し、これらの治療法へのアクセスを妨げる障壁を解説し、それらを解消して精密医療が普及するための対策を提言する。これらの市場が選ばれた理由は、アジア太平洋地域において最も大きく、確立された経済および医療システムを有しているためである。

ここまでのエグゼクティブサマリーでは、アジア太平洋地域の概要と対象4市場全体の主要なテーマと精密医療の定義、それを構成する技術と作用機序概要を紹介する。報告書の後半部分では、特に日本に焦点を絞り、以下の三点について論じることとする。

- 1 患者、医療システム、社会経済に対する精密医療の包括的ベネフィット。
- 2 日本において精密医療へのアクセスを妨げる課題
- 3 これらの課題を解決し精密医療の発展と普及を促すための提言

1.4.1 ベネフィットフレームワーク

精密医療の定性的および定量的なベネフィットを評価するために、本報告書では以下に紹介するベネフィットフレームワークを用いた。これらの先進的な治療アプローチは、患者の余命を延ばし、Quality of Life を大幅に改善することが示されている。しかし、そのベネフィットは患者個人にとどまらず、医療システム全体の効率性向上や経済活動の活性化（ヘルスケア産業の内外を含む）にまで及ぶ。このような広範なベネフィットを評価するにあたり、L.E.K. はケーススタディや各種の経済統計、臨床データを活用している。

なお、今回行われた分析は、現在臨床現場で利用可能な既承認の精密医療技術に基づいて実施されており、それゆえ、ベネフィット評価結果は、精密医療の潜在的な可能性を完全に表しているわけではなくやや保守的なものとなっている。

今後、新しい精密医療の技術が登場したり、既存の技術が治療過程のより早期段階で利用できるようになれば、実際に実現されるベネフィットははるかに大きくなる可能性を秘めていることを留意されたい。

具体的な各種のステップと使用したデータについては、付録を参照いただきたい。

- **患者ベネフィット**は、各対象技術について、最も関連性の高い疾患群（例：細胞療法の場合は血液がん等）を選択し、公開されている臨床試験や実臨床データを精査し、精密医療を用いた場合の患者の推定寿命を標準治療のそれと比較して精密医療技術による平均的な患者あたり延命効果を算出した。さらに、各国における対象患者母集団全体に外挿することで、延命効果の合計値を推定した。先述の通り、この数字は現在承認されて

いる精密医療を前提に算出されたものであり、より多くの治療法が他の疾患群の治療に利用できるようになった場合、また、これらの精密医療がより早い治療段階で使用されるようになった場合、大幅に増加する可能性がある。

- **医療システムへのベネフィット**は、精密医療の導入によって不要となった従来型の標準治療実施コストを考慮し、回避された医療費を算出した。算出に用いた標準治療コストは、各国の公開データに基づいている。
- **経済活動へのベネフィット**は、精密医療の導入により国内外企業が日本国内で行うサプライチェーン投資と新規雇用の創出を想定している。ベネフィットの定量化は、製薬セクターにおける革新的医薬品導入にあたっての直接投資と雇用創出にかかる公開データをもとに、今後10年間にわたって導入される革新的医薬品に占める精密医療の想定割合を考慮して算出されている。

尚、今回行われた分析は、現在臨床現場で利用可能な既承認の精密医療技術に基づいて実施されており、それ故ベネフィット評価結果は、精密医療の潜在的な可能性を完全に表しているわけではなくやや保守的なものとなっている。

乗数効果的なベネフィットは、次の2つの側面を検討しており、ベネフィットの定量化は先行する経済学研究の知見に基づいて算出された。

- 患者が回復し社会復帰することで、患者本人や介護者において労働参加と個人支出の増加が期待できる
- 製薬バリューチェーンにおける直接投資や雇用創出をこえて、より広範なセクターにおいて実現される幅広いベネフィット（あらたな雇用創出や税収機会など）

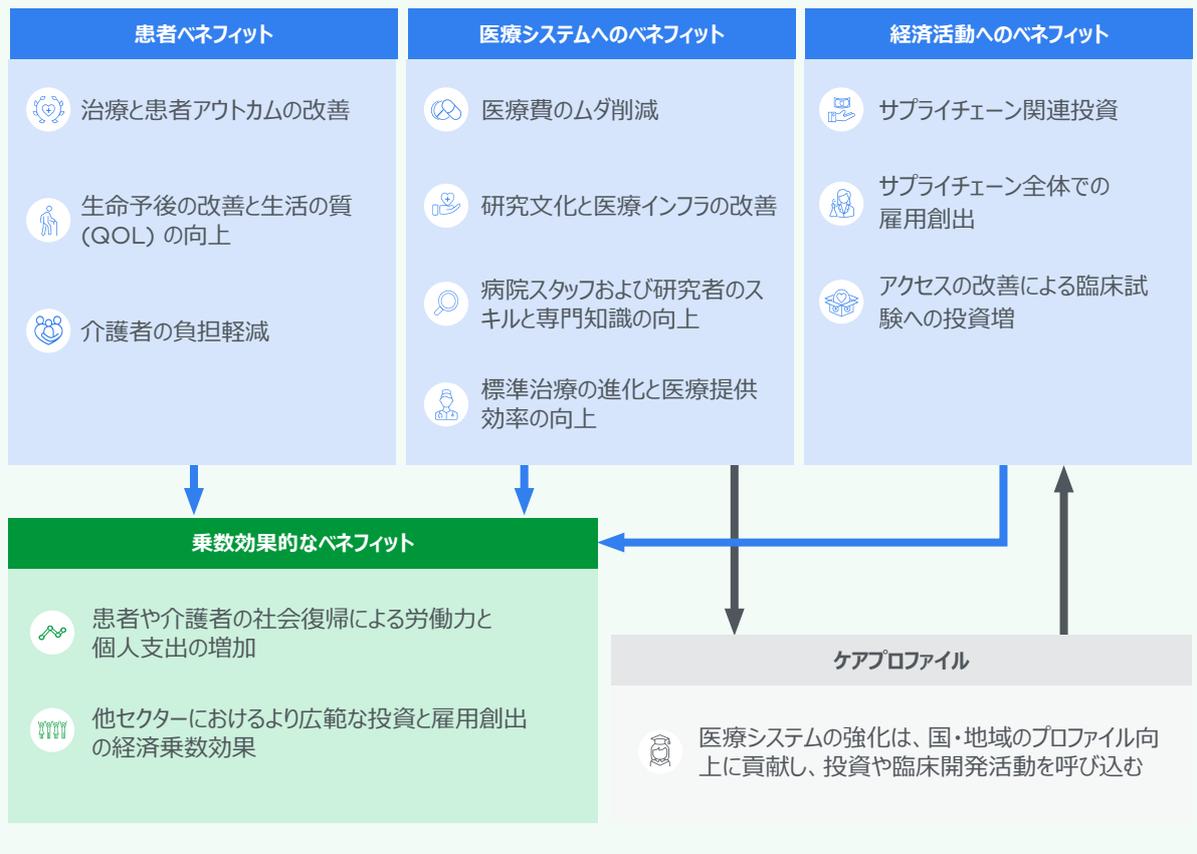
なお、分析に使用された臨床試験データは、先述のテクノロジー分野（細胞療法、遺伝子治療、標的抗体医薬、薬物-デバイス併用療法）に該当し、FDA承認があり当該国で臨床使用可能、かつ臨床試験データが入手可能なものを抽出して使用した。結果として、4市場合計で900~1,100件の臨床試験をカバーした（オーストラリア：130~190件、中国：500~620件、日本：120~160件、韓国：110~150件（年により多少の変動があることに留意））

1.4.2 精密医療のアクセス課題と提言

各市場における精密医療へのアクセスの課題とその解決に向けた提言は、市場ごとに設立された独立諮問委員会の意見をもとに作成された。これらの諮問委員会は、医療従事者、患者団体、製薬業界、政府・規制当局の各方面におけるキーオピニオンリーダーから構成され、各市場で2~3ヵ月にわたる一連のセッションを通して議論をおこなった。

本報告書の作成にあたり、このアプローチを採用したのは、アジア太平洋の各主要市場固有の状況を考慮し、ここでまとめられた提言の実行可能性を少しでも高めるためである。

精密医療のベネフィットのフレームワーク



2.0

日本における機会、課題と提言

2.1 市場背景

日本は、「国民皆保険制度」を通じて、すべての国民が高水準な医療サービスを受容できる環境を実現し、その結果として世界最高レベルの平均寿命を達成している。また、先端的な医療技術の研究開発と実装にも積極的に取り組んでおり、例えば国立がん研究センター中央病院のような先端医療機関は、ゲノムに基づくがん治療を主導している¹⁴。

しかし、その反面、国民の高齢化と医療技術の高度化による医療費（ひいては介護費用を含む社会保障費）の高騰に直面しており、長らくの少子化傾向による労働生産人口の減少と相まって、医療保険における収支バランスが取れず、国民皆保険制度の持続性は揺らぎ始めている。

国民皆保険制度を堅持していくためには、ひとつには医療費の過剰な伸びを抑制していく必要があり、その手段として日本政府/厚生労働省は隔年の診療報酬改定を実施して、医科、歯科、調剤、そして薬価のそれぞれのカテゴリにおいて公的保険からの支払金額の調整を行っている。

グローバル医薬品市場における日本の相対的魅力度は陰りをみせており、新しい医薬品・医療テクノロジーが日本に持ちこまれない、その結果として国民がこのような新しい医療の恩恵を受容できない状態が顕在化しはじめている。

診療報酬の中でも薬価は特に平均下落率が高い傾向にあり、定期的あるいは特別な価格の引下げが行われる中、グローバル医薬品市場における日本の相対的魅力度は陰りをみせており、新しい医薬品・医療テクノロジーが日本に持ちこまれない、その結果として国民がこのような新しい医療の恩恵を受容できない状態が顕在化しはじめている。このような状況は、「

ドラッグロス」または「ドラッグラグ」と呼ばれ、日本国民の将来的な医療アクセスを制限するリスクとして昨今注目を集めている。

日本で開発予定のない未承認薬、適応外薬は増加傾向にあり、その一例として、消化管間質腫瘍（GIST）の治療薬である Avapritinib と Ripretinib が挙げられる。これらの医薬品は、長らく新薬が開発・承認されていなかった同疾患において非常に高い効果を示す製品として FDA 承認されたが、患者から強く待望されているにもかかわらず、日本では開発予定がない状況である¹⁵。

それが国内企業によるものであっても、海外企業が持ち込むものであっても、いかにイノベーションの推進と医療費の高騰抑制をバランスさせ、国民皆保険制度とそれによる先端医療への患者アクセスを確保できるかが重要な論点となっている。

このような背景をうけて、それが国内企業によるものであっても、海外企業が持ち込むものであっても、イノベーションの推進と医療費の高騰抑制との均衡をいかに図りつつ、国民皆保険制度とそれによる先端医療への患者アクセスを確保できるかが重要な論点となっている。「経済財政運営と改革に関する基本方針 2024」（骨太の方針）においても、同様のイノベーションの推進¹⁶、医療の安定供給確保、物価高騰と国民皆保険制度の持続可能性を考慮しながら、2025 年以降の診療報酬改定について議論すべきことが強調されている。

¹⁴ Shimada, K., Nakamura, K. and Yamamoto, N., 2023. Mission of the National Cancer Center Hospital in Japan to promote clinical trials for precision medicine. *Cancer Biology & Medicine*, 21(1), pp. 1–3. Available at: <https://doi.org/10.20892/j.issn.2095-3941.2022.0643>

¹⁵ 日経メディカル, 2022. 新たなドラッグラグ、開発予定ない未承認薬増加. [online] Available at: <https://medical.nikkeibp.co.jp/leaf/all/series/cancernavi/202210/576994.html>

¹⁶ 厚生労働省, 2024. 「経済財政運営と改革の基本方針2024」、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2024改訂版」及び「規制改革実施計画」の概要について（報告） [pdf] Available at: <https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/001270729.pdf>

2.2 精密医療をもたらすベネフィット

「精密医療」は、新しい医療技術の多くがそうであるようにそれ自体高価なものであるが、その高い価格に見合うだけの価値があることがわかってきている。以下では、「精密医療」をもたらすベネフィットを、「患者ベネフィット」「医療システムへのベネフィット」「経済活動へのベネフィット」「乗数効果的なベネフィット」の4種類にわけて論じることとする。

患者ベネフィットは、精密医療を受けることで、その直接の受益者である患者とその介護者の Quality of Life が向上することを指している。医療システムへのベネフィットは、医療提供体制におけるコスト削減と提供能力の向上を実現する。最後に、経済活動へのベネフィットと乗数効果的なベネフィットは、医薬品・

診断薬のバリューチェーン全体への直接投資の増加と付加価値の創出、さらに患者や介護者が経済的な生産活動に復帰することで得られる価値を論じる。

留意すべきこととして、以下に論じる多角的なベネフィットは、本報告書の焦点である4種類の技術分野に限定されていたものであり、精密医療より広義の精密医療まで議論の範囲を拡大した場合には、想定されるベネフィットの総量は、この何倍にもなる可能性がある。

精密医療をもたらすベネフィット（2025～2035年）



患者ベネフィット

- ・ 約150万人の対象患者の治療アウトカムの改善
- ・ 対象患者の累積生存年数が約130万年増加
- ・ 対象患者の治療により、140～150万人の介護者のケア負担が軽減



医療システムへのベネフィット

- ・ 対象患者の既存治療の置換えにより、約8,630億円（57億米ドル）の医療費を削減
- ・ 医療産業における研究文化とインフラの改善
- ・ 病院スタッフと研究者による新しい医療スキルと専門知識の習得
- ・ 標準治療の改善と診療効率の向上



経済活動へのベネフィット

- ・ 医薬品バリューチェーン全体に約17兆円（11億米ドル）、診断バリューチェーンに約2.4兆円（150億米ドル）の直接投資
- ・ 医薬品バリューチェーンを支える約41,000人相当の高度技術職を創出し、さらに診断・医療提供サイドにも多くの新規雇用を創出
- ・ 新規臨床試験により1,230～1,760億円（8～12億米ドル）相当の経済活動が創出され、患者には治験参加機会を、医療従事者にはスキルアップ機会を提供



乗数効果的なベネフィット

- ・ 患者およそ150万人、介護者およそ150万人の社会復帰による労働力と個人支出の増加
- ・ 医薬品バリューチェーンに対する直接投資の乗数効果として、1～6倍の17～102兆円（1,120～6,700億米ドル）相当の経済活動と、41,000～247,000人の新規雇用を創出

2.2.1 患者ベネフィット

第一に、「精密医療」は、対象疾患における治療効果を向上し、さらに患者やその周囲の介護者の QoL向上に資すると考えられる。「精密医療」は、特定の患者や特定の病巣に特異的にアプローチすることで、これまでに治療法がなかった疾患に治療選択肢を提供したり、あるいは従来の治療法とくらべて有効性・安全性を著しく改善することができ、L.E.K. による試算では、本報告書の対象となる 4 つの治療技術は、2025 年から 2035 年の間に少なくとも 150 万人の日本人患者に延べ 130 万年分の延命効果をもたらす可能性を秘めている。

本報告書の対象となる 4 つの治療技術は、2025 年から 2035 年の間に少なくとも 150 万人の日本人患者に延べ 130 万年分の延命効果をもたらす可能性を秘めている。

現在、これらの治療技術の多くは第 3 選択または第 4 選択の治療として、従来型の治療法が試みられ奏効しなかった後にはじめて使用されている。もし治療のより早期段階でこれらの治療法を使用することがエビデンスの蓄積によって実現されれば、日本国民がうける健康へのベネフィットは更に増加する可能性がある。

例えば、現在日本において CAR-T 療法が使用されるのは、すでに 3 種類以上の標準治療を受けたものの奏効しなかった血液がん患者に限られるが、治療プロセスのより早い段階で CAR-T 療法を実施することで患者の生存率が向上することが研究により示されている¹⁷。このような治療法をより早期に利用できるようにすることで、より多くの患者が恩恵を受けることができる可能性があるということだ。

精密医療による治療を受けた患者の 90% 以上に介護者がついていることを考えると、日本では約 140~150 万人の介護負担が軽減される可能性がある¹⁸。

精密医療は、患者本人だけでなく、彼らをとりまく介護者や広範なコミュニティにも大きな社会的ベネフィットをもたらす。

精密医療は、治療効果を改善することで、介護者の負担を軽減し、がんのような重篤な疾患ケアに関連する感情的および経済的ストレスを軽減する。精密医療による治療を受けた患者の 90% 以上に介護者がついていることを考えると、日本では約 140~150 万人の介護負担が軽減される可能性がある¹⁸。

患者の生存年数の延長

	対象となる患 (2025~2035 年)	標準治療と比較した 精密医療による 患者1人あたりの生存年数 の延長	精密医療により延長した 総生存年数 (2025~2035 年)
細胞療法 	67,874 名の血液がん患者	3.37 年	全体で 228,865 年
遺伝子治療 	2,191 名の希少 遺伝性疾患患者	6.71 年	全体で 14,706 年
標的抗体治療および薬物-デバイス併用療法 	145.2 万人の 固形がん患者	0.719 年	全体で 104.4 万年

出典 : Global disease burden database; MHLW; peer-reviewed papers; L.E.K. research and analysis

¹⁷ Onclive, 2024. Quadruplet therapy and early-line CAR T-cell therapy approvals mark shifting standards in multiple myeloma. Onclive. [online] Available at: <https://www.onclive.com/view/quadruplet-therapy-and-early-line-car-t-cell-therapy-approvals-mark-shifting-standards-in-multiple-myeloma>

¹⁸ Bedaso, A., Dejen, G., & Duko, B., 2022. Depression among caregivers of cancer patients: Updated systematic review and meta-analysis. Psychooncology, 31(11), 1809-1820. Available at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9828427/>

2.2.2 医療システムへのベネフィット

第二に、「精密医療」の導入促進は、医療の費用対効果を高めることで医療費適正化に貢献し、また我が国の医療研究・臨床体制を進化させると期待されている。本節では、このことを医療費の削減、研究開発文化の向上、医療従事者のスキル向上、標準治療の改善の観点から論じる。

2.2.2.1 医療費の削減

精密医療は、その医薬品が効果を発揮する患者とそうでない患者を見極め、前者にしぼって医薬品や診療リソースを投じることで、効果の期待できない無駄な医療サービスを提供することを回避できる可能性がある。L.E.K. による試算では、2025年からの十年間で、精密医療の恩恵を受ける患者数を150万人と見込んだ場合、約 8,630 億円（57 億米ドル）の医療費削減効果が見込まれる。これは、対象患者が長期にわたって健康状態を維持したことで、入院回数が減少し、投薬コストが削減され、専門医などの医療従事者がこれらの患者に対して割く役務の縮小に起因するものである¹⁹。

2.2.2.2 研究開発文化と医療提供体制の強化

精密医療を導入することは、ゲノムデータベース（例：がんゲノム情報管理センター）やバイオリソースバンク（例：東北メディカルメガバンク）のような、これからの創薬研究における重要な基盤を整備発展させることにつながり、また、これらの情報を活用した新しい医療のありかたに向けて医療提供体制をアップデートすることにもつながる。

- がんゲノム情報管理センター（C-CAT）：2018年に発足したこのセンターは、ゲノム情報の解析とデータ共有のプラットフォームとして機能し、蓄積されたゲノムデータを臨床診療に統合する。医療専門家からなる専門家パネルと密接に連携し、患者が自身の遺伝子プロフィールに基づいて適切なケアを確実に受けられるようにする²⁰。

- 東北メディカルメガバンク機構およびバイオバンクジャパン：これらの巨大なバイオバンクは、日本国民の生体サンプルと健康・疾患データを収集しており、遺伝的リスク因子の研究や個別化医療の開発に役立つ貴重なリソースを提供することで、ゲノム研究を支援している²¹。

2.2.2.3 医療従事者のスキルと専門知識の向上

日本で精密医療が普及するためには、専門的なトレーニングを通じて医療従事者の技能と専門知識を高めることが求められる。C-CAT のようなプログラムは、治療計画においてゲノムデータを効果的に使用するためのツールを臨床医に提供している。また、2019年に包括的ながんゲノムプロファイリング検査（CGP）の保険償還が始まると、腫瘍学、臨床遺伝学、病理学、遺伝子カウンセリングの専門家などを含むエキスパートパネルが設立され、多様な専門家による検討を経て患者にとって最適な医療を提供することを促すことにつながっている。

L.E.K. による試算では、2025年からの十年間で、精密医療の恩恵にあずかる患者数を150万人と見込んだ場合、約 8,630 億円（57 億米ドル）の医療費削減効果が見込まれる。

2.2.2.4 標準治療の改善と効率性の向上

精密医療は従来型の標準治療と比較して患者の治療期間／入院期間を短縮することで医療提供の生産性を高めることも報告されている。例えば、英国の研究によれば、精密医療としてのがん治療薬を用いて治療したがん患者の研究で

精密医療は患者の家族と介護者に影響を与える



副作用の低減、治療後の回復期間の短縮、疾患再発リスクの低減



人生における重要なマイルストーンを経験しコミュニティに参加する能力



身体機能、認知機能、感情、社会機能の強化



不治の病、または終末期疾患とともに生きることへの心理的負担からの解放

¹⁹ 厚生労働省, 2024. 国民医療費の概況. [online] Available at: <https://www.mhlw.go.jp/toukei/list/37-21c.html>

²⁰ Kohno, T., Kato, M., Kohsaka, S., Sudo, T., Tamai, I., Shiraiishi, Y., Okuma, Y., Ogasawara, D., Suzuki, T., Yoshida, T., & Mano, H., 2022. C-CAT: The National Datacenter for Cancer Genomic Medicine in Japan. *Cancer discovery*, 12(11), 2509–2515. Available at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9762342/>

²¹ Tohoku Medical Megabank Organization, 2024. Tohoku University Mega Bank Organization. [online] Available at: <https://www.megabank.tohoku.ac.jp/english/>

医療費の削減

	対象となる患者 (2025~2035 年)	患者 1 人当たりの 平均医療費削減	合計の医療費削減 (2025~2035 年)
細胞療法 	67,874 名の血液がん患者	182.3 万円 (12,000 米ドル)	合計 1,238 億円 (8 億米ドル) の削減
遺伝子治療 	2,191 名の希少遺伝性疾患患者	8,455 万円 (556,000 米ドル)	合計 1,853 億円 (12 億米ドル) の削減
標的抗体治療および薬物-デバイス併用療法 	145 万人の 固形がん患者	38.1 万円 (2,500 米ドル)	合計 5,536 億円 (36 億米ドル) の削減

出典 : Global disease burden database; MHLW; peer-reviewed papers; L.E.K. research and analysis

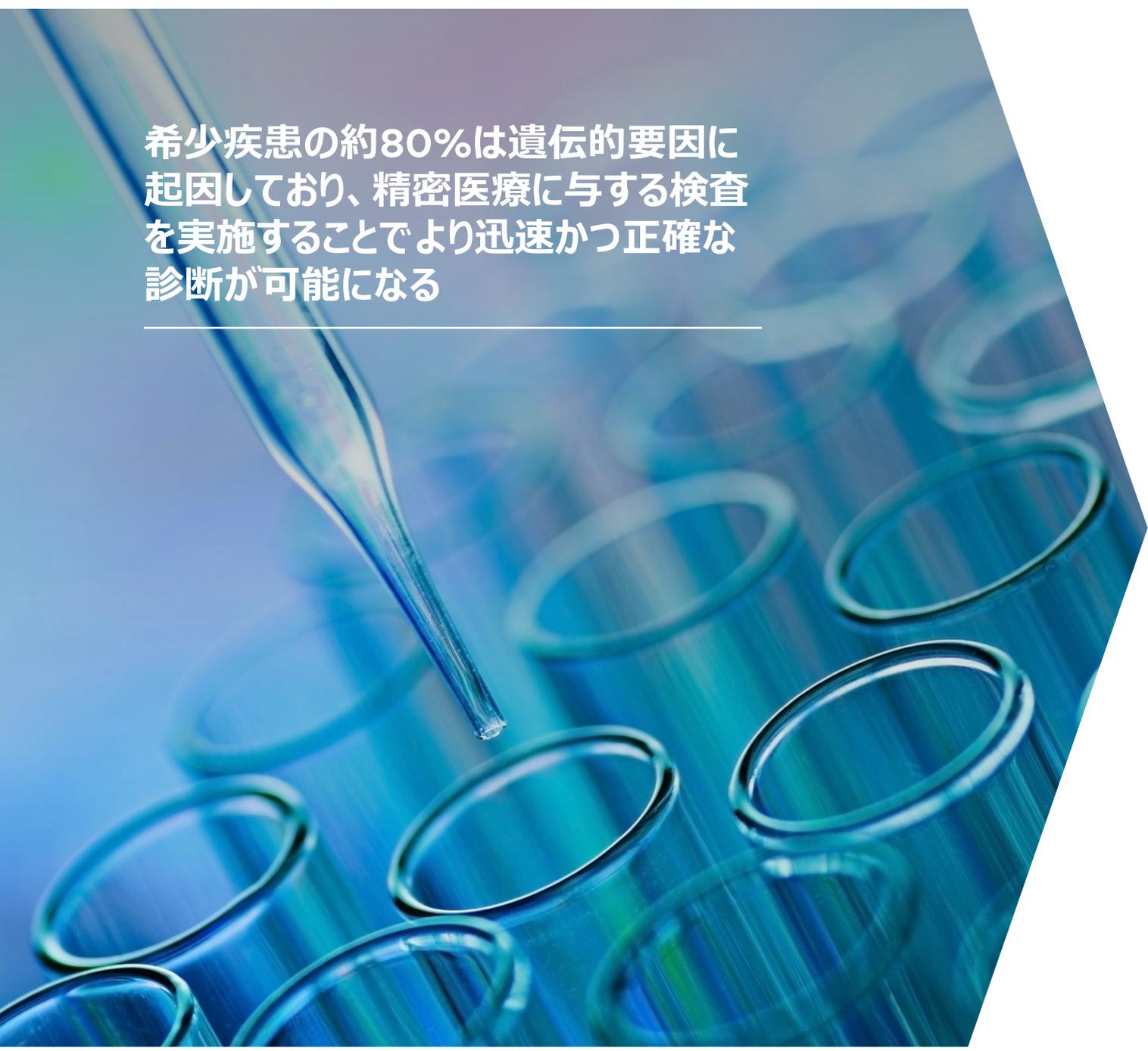
は、従来型の化学療法を受けている患者の平均入院日数は7日間であったのに対して、精密医療を施した患者の平均入院日数はわずか3~4日であったことが報告されている²²。

精密医療は、高度に個別化された治療計画を可能にし、より効果的な治療と臨床アウトカムの改善をもたらす。遺伝情

報と高度な診断技術を臨床の意思決定に組み込むことによって、治療をより早期に開始でき、治療が長引くことを抑制し、医療サービス提供における全体的な効率向上を実現する可能性がある。

日本で精密医療が普及するためには、専門的なトレーニングを通じて医療従事者の技能と専門知識を高めることが求められる。

²² Gill, J., Fontrier, A-M., Miracolo, A. and Kanavos, P., 2020. Access to Personalised Oncology in Europe. London School of Economics. Available at: <https://doi.org/10.21953/5zsbeehvd3u8>



希少疾患の約80%は遺伝的要因に
起因しており、精密医療に与する検査
を実施することでより迅速かつ正確な
診断が可能になる

2.2.3 経済活動

第三に、日本に新しい「精密医療」を導入する際には、その臨床開発、製造、臨床現場への流通を整えるために企業による多額の投資と雇用創出が期待できる。

L.E.K. の試算では、2025 年から 2035 年の間に、精密医療の研究開発、製造、販売、流通に約 17兆円（1,120 億米ドル）の直接投資が発生すると推定されている。この投資に関連して、製薬業界では約 41,000 人の高度技術を要する職が生み出される可能性があり、これは日本における現在の製薬分野労働人口の 30% に相当する²³。

この投資に関連して、製薬業界では約 41,000 人の高度技術を要する職が生み出される可能性があり、これは日本における現在の製薬分野労働人口の 30% に相当する²³。

また、診断分野では、これらの精密医療へのアクセスを促進するために、2.4 兆円（160 億米ドル）のコンパニオン診断薬への追加投資が必要になる可能性がある²⁴。

研究開発活動の一環として、国内における臨床試験件数は増加し、関連市場は2035 年までに約 1,230~1,760 億円（8~12 億米ドル）成長すると予想される。また、この活動は、患者に未承認の革新的治療薬へのアクセスを提供し、日本の医療従事者のスキル向上にもつながると期待される。

製薬バリューチェーンにおける投資および雇用創出 (2025~2035年)



²³ 厚生労働省, 2024. 医薬品・医療機器産業実態調査. [online] Available at: <https://www.mhlw.go.jp/toukei/list/87-1.html>

²⁴ Statista, 2024. In-vitro diagnostics - Medical Technology. [online] Available at: <https://www.statista.com/outlook/hmo/medical-technology/in-vitro-diagnostics>

2.2.4 乗数効果的なベネフィット

第四に、「精密医療」は、高い治療効果により患者や介護者の社会復帰を促し、これにより間接的な経済効果をもたらすことが期待される。

2.2.4.1 経済活動における乗数効果

精密医療の経済的ベネフィットは、製薬業界を超えて拡大しより広範な経済全体に波及効果をもたらすと予想される。この波及効果は、2025年から2035年にかけて、17～102兆円（1,120～6,700億米ドル）相当の経済活動と41,000～247,000人の雇用創出につながる可能性がある。これらの乗数効果は、雇用創出による賃金や消費支出の増加がどのように経済活動を促進するかについての過去の調査分析に基づいており^{25, 26, 27, 28}、税収益と雇用の伸びが、より広範な経済的影響の拡大につながることを示唆している。

この波及効果は、2025年から2035年にかけて、17～102兆円（1,120～6,700億米ドル）相当の経済活動と41,000～247,000人の雇用創出につながる可能性がある。

2.2.4.2 幅広い経済乗数

精密医療により健康の回復または大幅な改善が見られると推定される約150万人の患者は社会復帰し、労働力の提供、個人消費活動、納税を通じて社会の生産性向上に寄与すると推定される。これまで医療費給付を受けていた個人が、保険料の支払いを通じて社会福祉制度を支える側に回る可能性もあり、保険制度の持続性向上に貢献する。

精密医療により健康の回復または大幅な改善が見られると推定される約150万人の患者は社会復帰し、労働力の提供、個人消費活動、納税を通じて社会の生産性向上に寄与すると推定される。

また、これらの患者の介護にあっていた約140万～150万人の患者家族が社会復帰することで、同様の社会の生産性向上効果が期待できる²⁹。尚、このような社会生産性の向上効果は、多くの精密医療の適応が標準治療終了（見込みを含む）以降となっている現状では限定的であり、予防や早期治療での使用が可能になるタイミングでの実施により大きな効果をもたらすものと考えられる。

²⁵ Medicines Australia, 2018. The Economic Contribution of the Innovative Pharmaceutical Industry to Australia. [pdf] Available at: <https://www.medicinesaustralia.com.au/wp-content/uploads/sites/65/2020/11/Economic-Contribution-Innovative-Pharma-industry-Australia.pdf>

²⁶ Teconomy Partners, 2017. The Economic Contribution of the Life Sciences Sector to the U.S. Economy. [pdf] Available at: <http://orclinicalresearch.com/wp-content/uploads/2018/12/teconomy-partners-2017-study.pdf>

²⁷ Australian Commission on Safety and Quality in Health Care, 2017. Economic Evaluation of Investigator-Initiated Clinical Trials Conducted by Networks. [pdf] Available at: <https://www.safetyandquality.gov.au/sites/default/files/migrated/Economic-evaluation-of-investigator-initiated-clinical-trials-conducted-by-networks.pdf>

²⁸ Rare Cancers Australia, 2024. The True Value of Investing in Cancer Treatment. [online] Available at: <https://www.rarecancers.org.au/news/483/the-true-value-of-investing-in-cancer-treatment>

²⁹ Keio University Hospital, 2024. Radiation Therapy Information and Services. [online] Available at: https://www.hosp.keio.ac.jp/en/annai/raiin/kougaku_seido.html

2.3 新しい精密医療へのアクセス課題

精密医療は、個々の患者の遺伝情報、病歴・治療歴、ライフスタイルなどの複合的な要因を考慮することで、最も適切な治療を提供することを可能にする。このアプローチは、治療の効果を向上させるだけでなく、不要な治療の回避にも役立ち、最終的には医療費の最適化に貢献することが期待されている。

しかし、現在、革新的な精密医療を必要とする患者の手に届けるには複数の課題があり、その潜在的な効用を完全に発揮するには至っていない。数ある課題のうち主だったものを以下で議論する。



アクセスへの障壁

2.3.1 新しい「精密医療」に魅力的な薬価が見つからない

「精密医療」の価値と現行評価制度にずれが生じている

- 「精密医療」は、患者個人（あるいは罹患前の健康な個人）の特徴に応じた介入を行うことで、重篤な疾患の発症を未然に防いだり、疾患が重症化する前に先手を打って治療する、「先制医療」を可能にする
- しかしながら、現行の診療報酬制度（特に薬価制度）は、こうした「先制医療」の価値（患者の予後改善だけでなく、医療費の削減効果や、社会の生産性向上効果まで含む）を包括的に評価することに対応しておらず、革新的な「精密医療」に対して高い診療報酬を認めその開発と導入を動機づけることができていない

価値評価の「個別性」への対応ができていない

- 現行の仕組みでは、医療技術の費用対効果評価の指標はICER（健康寿命（QALY）を1年間延ばすのに必要な費用）が一律採用されているが、個々の「精密医療」のもつ価値は必ずしもQALYで評価されるものではない
- 理想的には疾患や治療法の特徴によって異なる指標が検討されるべきである

評価において適切な「専門家」が巻き込まれていない

現行制度では、医療技術の規制や保険制度に関する議論に参加するのは一部の医療従事者に偏っており、適切な専門家が巻き込まれているとはいえ、医療経済の専門家のほか、対象疾患の治療にあたる医師、患者や支援団体の意見が評価に反映されにくい状況にある



アクセスへの障壁

2.3.2 CDx/CGP を保険下で利用できるタイミングと状況が過剰に規制されている

コンパニオン診断薬に十分な互換性が担保されていない

- 現状、診断薬と医薬品に複雑な1:1対応が存在し、特定のバイオマーカー検査で治療効果が期待される薬が判明したとしても、用いた検査の種類によっては患者は保険診療下でその最適な治療を受けられない状況が発生する
- このように診断薬の互換性が十分に担保されないことから、患者が保険適用内で最適な治療を受ける機会が制限されている

「精密医療」の利用可能施設とタイミングが過剰に規制されている

- がんゲノムプロファイリング検査（CGP）の利用は規制により一部の高度医療機関に制限されており、患者のうち約60~70%がCGP及びがんゲノム医療にアクセスできない
- また、保険診療下では、第一選択治療（フロントライン）には承認されておらず、患者の早期治療や医療費のムダ削減の機会を逸している
- 例えば、2024年に乳がんへの適応で承認されたカピバセルチブはCGPを通じて適応判断がされるが、この治療が必要とされるタイミングではCGP使用が保険償還されず病院あるいは患者の自己負担が大きくなり、結果として本剤を積極的に使用することができない状態が続いている



アクセスへの障壁

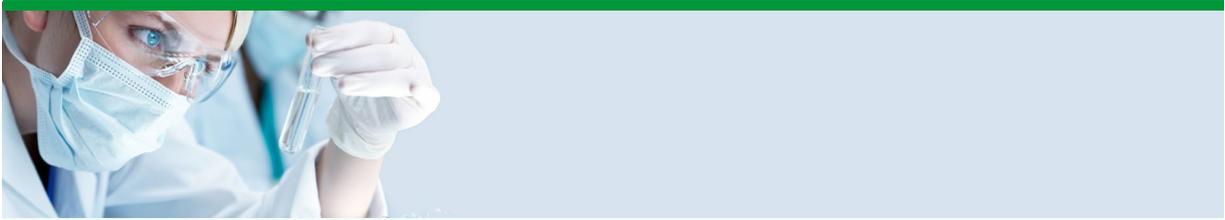
2.3.3 保険外における技術評価と公的保険適用の円滑な移行が進まない

保険外併用療養の利用が容易ではない

- 公的医療保険の財源が逼迫している現状において、すべての革新的医療技術をただちに保険診療下に取り込むことは難しい。しかし、こうした技術の中には、臨床現場で実証を重ねることで有効性が確認され、包括的な価値が認められるものが少なくない。これらの技術を公的保険診療にスムーズに移行させるためには、保険外併用療養（評価療養や患者申出療養など）を活用することで臨床現場に持ち込む間口を広げ、その上で包括的な価値が認められた技術については、迅速に公的保険の適用に組み入れていくことが企図されている
- しかしながら、現実には保険外併用療養の実施に伴う医療機関のリソース負担の重さや、こうした先端医療に対する国民や患者の認知・関心不足がこれらの制度の活用を阻害している

コンパショネート使用による革新的医薬品へのアクセスが限られている

- 日本には他国で利用可能な単一患者治験薬有償利用制度（IND）が存在せず、革新的治療のコンパショネート使用は拡大アクセス試験に限定されている。このため、製薬会社は承認プロセスに影響を及ぼす可能性を懸念するが故に実施に消極的であり、結果として患者は必要な治療へのアクセスが制約されている



アクセスへの障壁

2.3.4 新しい「精密医療」の開発が進まない³⁰

業種・技術領域を超えた研究開発コラボレーションが進まない

- 「精密医療」は、生物医学的な研究に加えて、AIによる膨大なデータの迅速かつ高精度な解析や、デバイスを通じたリアルタイムの健康モニタリングなど、様々な技術領域の専門家が、産官学の壁を越えて連携し、研究開発にあたるのが重要であるが、このような異業種連携を促す取り組みが日本では活発とは言えない

研究に集中できる環境の欠如

- こうした先端技術の開発をリードすべき大学病院においてすら、研究と臨床の機能分化が進んでおらず、多くの研究者が臨床業務や事務作業に追われ研究に専念できない状況が生まれている
- 研究に関連する事務作業の負担は大きく、研究費が増加するにつれて事務業務も増えるという悪循環が生じており、また研究者の雇用・待遇が十分ではないことから、優秀な人材が経済的な理由で開業医に転向し、研究の現場から離れるケースが増えている

医療データの利活用が進まない

- 患者情報／電子カルテ情報の医療機関の壁をこえた共有が検討されているが、主に3文書6情報*という比較的狭い範囲に限られ（例えば、患者ゲノム情報などの価値ある情報は含まれず）、また製薬企業などへの共有も制限されるため、精密医療を含む創薬研究への利活用が限定的である
- また、東北バイオバンクをはじめとする大規模バイオバンクに集約されたデータは国内の指定の施設からでないとアクセスできないなど、国際的な創薬研究の枠組みで利用しにくい状況になっている
- * 3文書(① 診療情報提供書、② キー画像等を含む退院時サマリー、③ 健康診断結果報告書) 6情報 (① 傷病名、② アレルギー情報、③ 感染症情報、④ 薬剤禁忌情報、⑤ 検査情報 (救急時に有用な検査、生活習慣病関連の検査)、⑥ 処方情報)

治験への患者リクルーティングのハードルが高い

- 医療機関の機能分化が進んでいないことによる症例分散や、国内治験情報の網羅性・透明性の低さ、国民・患者の医療リテラシーや関心の低さなどが要因となり、特定層の患者を迅速に集めることが難しい。特に、韓国や中国と比較しても治験の進行が遅れる原因となっている。特に「精密医療」においては、患者の層別化が進む中でいかにターゲット患者を迅速に治験へのリクルーティングできるかが重要である

³⁰ Oncolo, 2024. Oncolo: Cancer Information and News. [online] Available at: <https://oncolo.jp>

A photograph of two scientists in a laboratory. A woman on the left and a man on the right are both wearing white lab coats and are looking through microscopes. The man is wearing blue gloves. The background is filled with laboratory equipment and shelves. A green triangle is visible on the left side of the image.

イノベーションのスピードが、現在の薬事規制・保険償還制度のプロセスを凌駕しており、これらの仕組みはもはや現代の要請に
えるものではなくなっている

2.4 新しい精密医療へのアクセス改善に向けた提言

これまで精密医療のアクセス課題について論じてきたが、ここからはそれらの課題を解決し、精密医療へのアクセス向上を図るための提言を論じる。精密医療は、その治療効果にとどまらず、医療の効率化や経済効果など多岐にわたる価値を持つ。これらの価値を的確に評価し、最大限に引き出すためには、現行の規制や保険制度の見直しが不可欠であり、さらに場当たり的な運用による是正が急務である。これにより、精密医療の普及とアクセス向上を実現し、患者のみならず社会全体に恩恵をもたらすことが期待できる。主な提言は下記の4点である：

1 承認・保険制度の進化

2 CDx/CGP の保険適用規制の緩和

3 革新的医薬品の保険外利用促進

4 革新的な精密医療の研究開発の推進



提言

2.4.1 承認・保険制度の進化³¹

新しい医療パラダイムに即した規制・保険制度の見直し

- 「精密医療」の持つ患者ベネフィット、社会的ベネフィット、経済的ベネフィットを総合的に評価し、その価値を規制や保険制度に的確に反映させることで、医療技術の迅速な導入と普及を促進するため、評価に基づいた規制や保険制度の枠組みを再構築する

「精密医療」の個別性に応じた価値評価方法の検討

- QALY一律の状況から脱し、適切な専門家を巻き込みながら疾患や治療法に適した価値評価指標を設定し、「精密医療」の価値を正しく包括的に評価できる仕組みを整備する

革新的医療技術の価値評価体制の強化

- 臨床現場の判断により、CGP（がんゲノムプロファイリング検査）をより早期段階で保険診療下で使用できるよう規制の見直しを行う
- 同時に、AIを活用したCGP検査結果の解釈支援や、リモートでのエキスパートパネル開催などの手段を導入し、精密医療実施上の負担軽減を推進する

³¹ 内閣官房，2020．新型インフルエンザ等対策有識者会議 新型コロナウイルス感染症対策分科会 構成員・臨時構成員名簿 [online] Available at: <https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/ful/pdf/meibo-corona.pdf>



提言

2.4.2 CDx/CGP の保険適用規制の緩和

コンパニオン診断薬の 互換性評価の推進

- ・ 精密医療が適切なタイミングで、適切な患者に、適切に使用されるよう、保険適用の範囲や条件を見直し、臨床現場の判断で柔軟に新しい治療法が使用できるよう規制を緩和する
- ・ 殊更、製薬企業、診断薬メーカー、学会などのステークホルダー連携を促すことでCDxの互換性評価を推進する

包括的ゲノムプロファイリングの実施・ 保険適用の規制緩和

- ・ 臨床現場の判断により、CGP（がんゲノムプロファイリング検査）をより早期段階で保険診療下で使用できるよう規制の見直しを行う
- ・ 同時に、AIを活用したCGP検査結果の解釈支援や、リモートでのエキスパートパネル開催などの手段を導入し、精密医療実施上の負担軽減を推進する



提言

2.4.3 革新的医薬品の保険外利用促進

保険外併用療養費制度のあり方 の再検討

- ・ 評価療養、患者申出療養など公的保険外での革新的医療使用のハードルを緩和し、たとえ保険診療科でなくても、患者ニーズや臨床現場判断によっては「精密医療」を使用できるようにする

未承認薬に対するコンパシネート使用 の利用環境改善

- ・ 単一患者 IND（治験薬有償利用制度）システムを導入し、緊急医療ニーズをもつ患者が早期に必要な治療を受けることができるようにする
- ・ コンパシネート使用における有害事象の承認申請への潜在的影響を適切に制限するための明確なガイドラインを確立する



提言

2.4.4 革新的な精密医療の研究開発の推進

セクターや国境を越えたオープンイノベーションの推進

- 産官学、医薬・機器・デジタル、国内外などの様々な領域間の壁を超えたコラボレーション環境を整えるための場作りと投資を進める

精密医療の研究開発体制の強化

- 大学病院における研究開発と臨床の機能分化を推進し、研究者が研究に集中できる環境を整備する。これには、研究開発にかかる事務サポートの強化や、研究者の雇用・待遇改善を含む

治験における患者リクルーティングの効率化

- 医療機関の機能分化を進め、先進的治療の症例集約する。治験情報の集約と透明性を向上させる
- 製薬企業など「精密医療」を開発提供する企業からの医療用医薬品に関する広告規制の緩和、医学・臨床研究への患者市民参画(Patient and Public Involvement)の推進を通じて、国民や患者への認知・関心の喚起と医療リテラシーの向上を図る

医療・ゲノムデータ基盤の整備と研究開発への利活用推進

- ゲノム情報を含む患者臨床情報について異なる医療機関、アカデミア研究所、製薬企業で円滑に共有するための仕組みを構築し、創薬や臨床研究において利活用できる環境を整備する

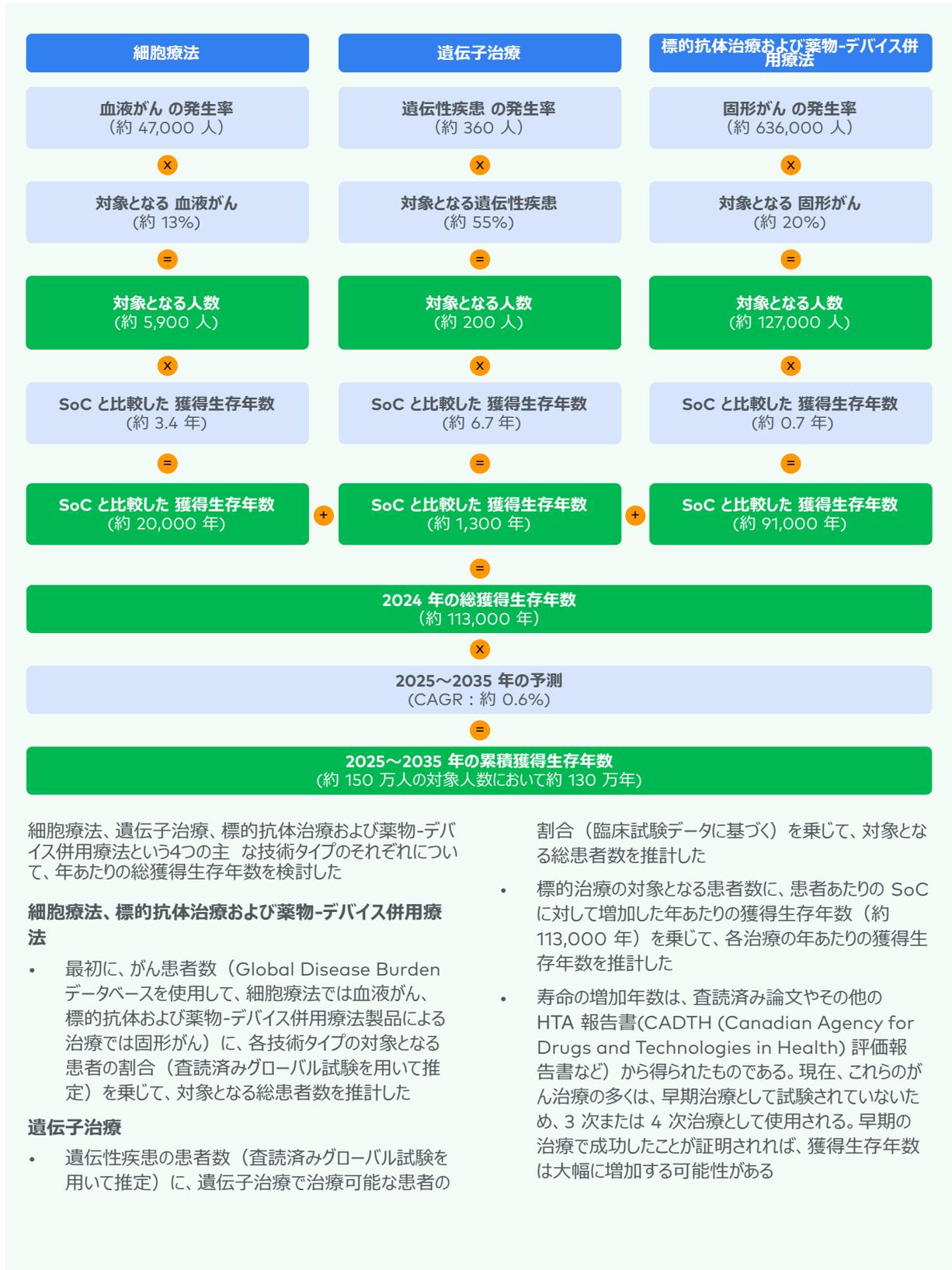
3.0 付録

ここでは、精密医療のもたらす便益の定量化アプローチについて説明する。モデル構築にあたっては、政府の各種データセット、業界データセット、公開レポート、市場レポート、企業の財務諸表など、多様な情報源を活用した。これらの情報源がどのように活用されたかについて概要を記載し、出典の詳細をReferenceとして示した。諮問委員会には定量化手法とその出力内容を確認頂いたが、試算結果の検証には関与しておらず責任をおわない旨ご留意頂きたい。

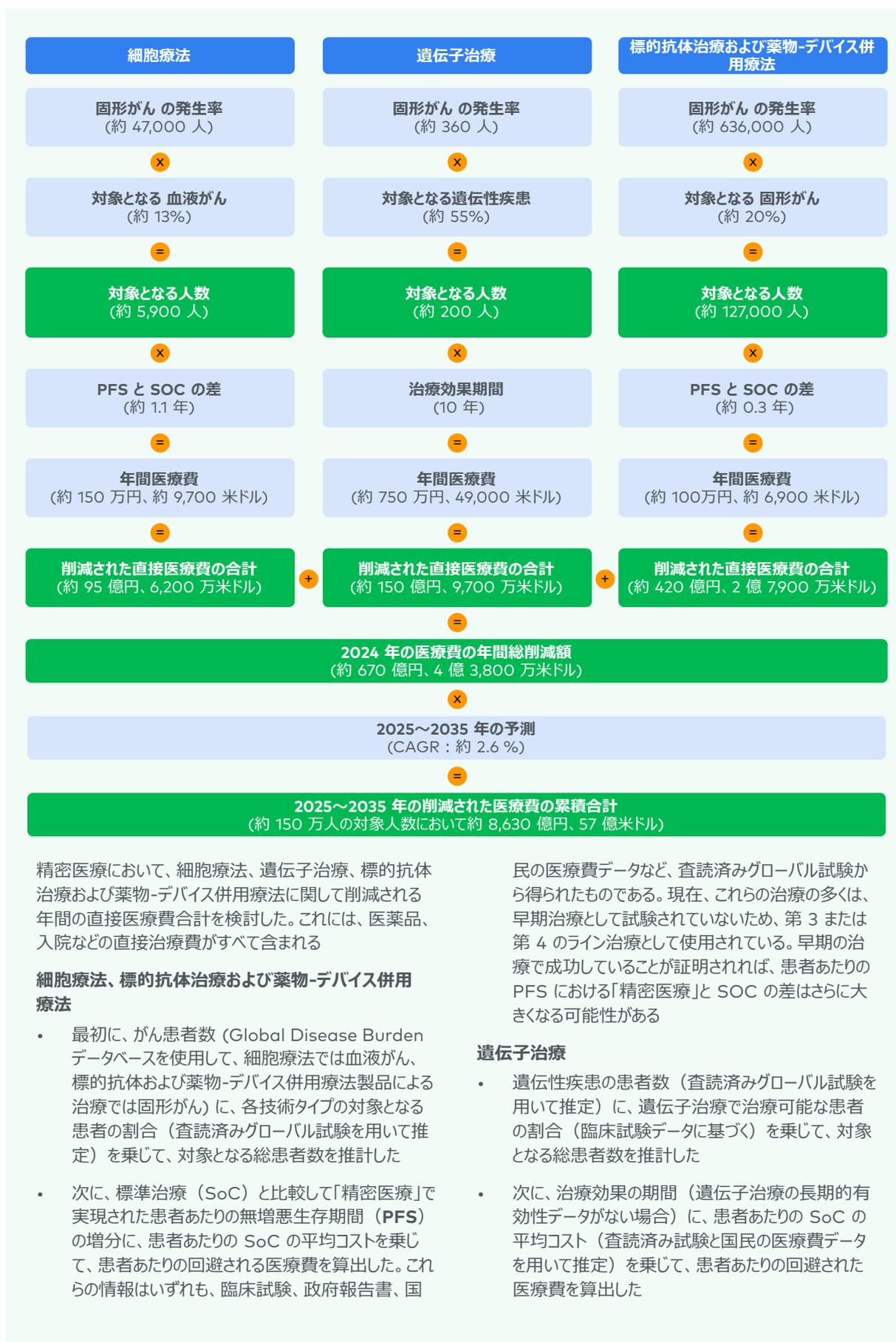
3.1 モデリング法

3.1.1 総獲得生存年数

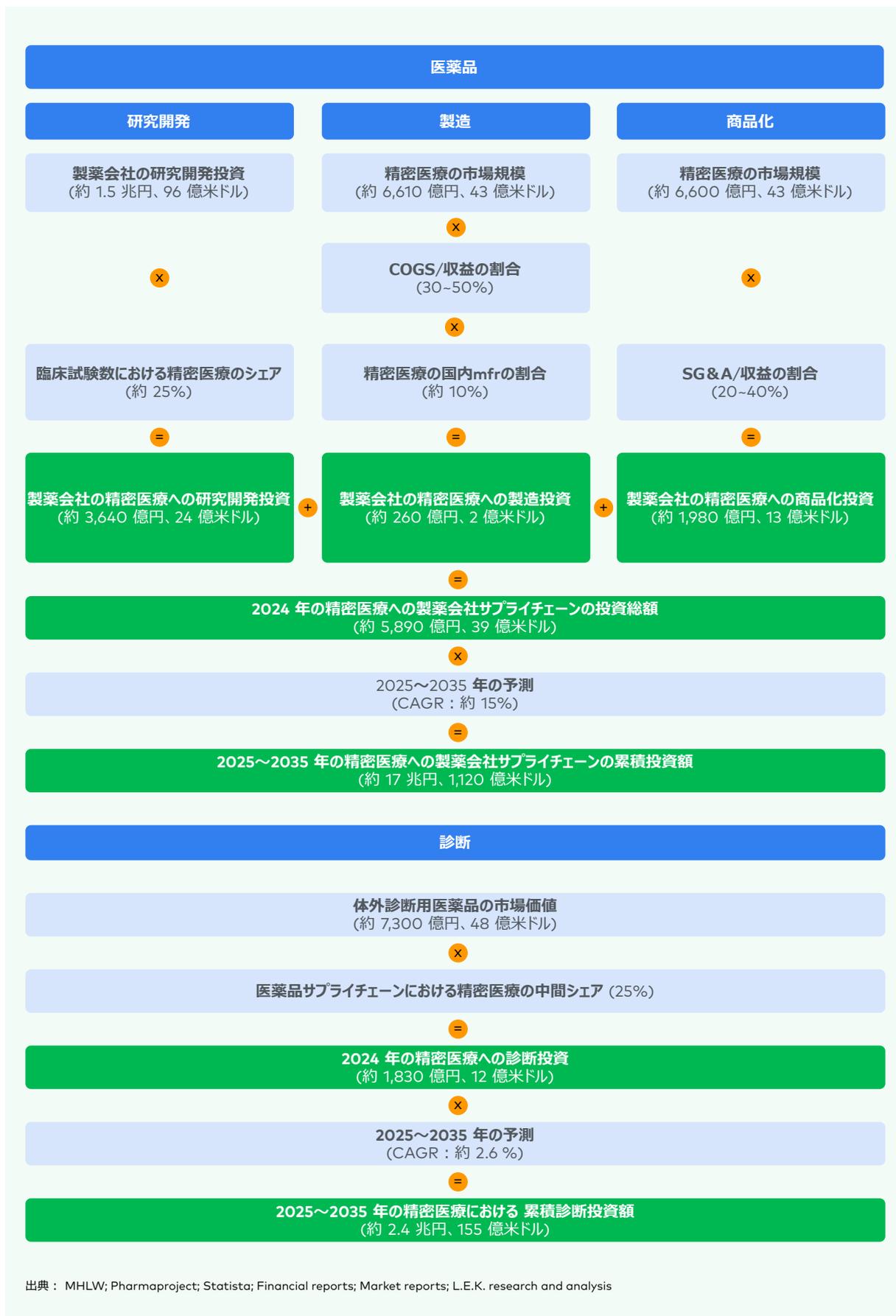
入力 計算



3.1.2 削減される医療費



3.1.3 産業経済投資



- 精密医療への経済投資総額は、2024 年における研究開発、製造、商業化（販売とマーケティング、市場参入など）への投資を検討して推計した（ニュース記事の市場レポートおよび公共投資の発表に基づく）
- 研究開発への投資は、2024 年における製薬企業の研究開発投資総額（財務報告書から）に、「精密医療」への投資比率（Pharmaprojects データの代用として 2020～23 年の「精密医療」と分類された臨床試験の割合）を乗じて推定した
- 製造投資は、2024 年の「精密医療」市場規模合計に、製造支出の推定比率（日本では「精密医療」を重視している上場製薬会社の COGS を割合としてベンチマークとすることで推定）と国内製造率の「精密医療」の推定比率（抗体の国内製造率をベンチマークとして推定）を乗じて推定した
- 商品化投資は、2024 年の「精密医療」市場規模合計に SG&A 支出の推定比率を乗じて推定した（財務報告書を用いて、日本で「精密医療」および腫瘍学を重視する上場製薬会社をベンチマークとして推定）
- 診断サプライチェーンへの投資は、（市場レポートに基づく）市場における総合的な価値に基づいて推定し、医薬品サプライチェーンに適用される「Precision Medicine」の比例的な加重平均シェアを適用した
- 年間投資額の合計には、サプライチェーンへの投資と FTE が含まれる

3.1.4 FTE





参考資料

Author(s); Organisation	Title	Year
Australian Institute of Health and Welfare (AIHW)	Australia cancer incidence and mortality books	2017
AIHW	Health expenditure	2024
AIHW	Health system expenditure on cancer and other neoplasms in Australia (2015-16)	2021
AMA	System-wide health sector reform agenda: Medical leaders.	2024
American Society of Gene & Cell Therapy	Vectors 101	2024
Crump, M. et al.; American Society of Hematology	Outcomes in refractory diffuse large B-cell lymphoma: Results from the international SCHOLAR-1 study. Blood	2017
AstraZeneca	Precision medicine	2024
AusBiotech	Australia's Regenerative Medicine Manufacturing Capability & Capacity	2021
Australian Clinical Trials Alliance	Economic evaluation of investigator-initiated clinical trials conducted by networks	2017
Australian Commission on Safety and Quality in Health Care	Economic evaluation of investigator-initiated clinical trials conducted by networks	2024
Cancer Council Australia	Optimal Cancer Care Pathways	2024
Cure Blindness Australia	Retinitis Pigmentosa	2018

Author(s); Organisation	Title	Year
DHAC	Life-saving Spinal Muscular Atrophy medicine to be made available to Australian babies	2020
De Abreu Lourenço, R., et al.; DHAC	Consultation 1 Report. Australian Health Technology Assessment Methods and Policy Review	2023
DHAC	Genomics Health Futures Mission	2024
DHAC	Minister for Health and Aged Care press conference	2024
DHAC	National Health and Medical Industry Growth Plan	2024
DHAC	National Preventive Health Strategy 2021–2030	2021
DoH	\$460 million to make Victoria a centre for health, medical research and cancer treatment.	2024
DoH	Accelerating Access to the Best Medicines for Australians Now and into the Future	2024
DoH	Australia's Long Term National Health Plan	2019
DoH	National strategic action plan for rare diseases	2020
European Commission	Rare diseases	2024
Garvan Institute of Medical Research	Precision medicine becomes more accessible for Australians with cancer	2021
Global burden of disease database	Global burden of disease database: Cause of death or injury	2021
IQVIA	The global use of medicines 2024: Outlook to 2028	2024
Johnson & Johnson	Economic & Social Impact in Australia	2018

Author(s); Organisation	Title	Year
Gill, J., Fontrier, A. M., Miracolo, A., & Panos, K.; LSE	Access to personalised oncology in Europe	2020
Memorial Sloan Kettering Cancer Center	Off-the-shelf CAR cell therapy for multiple myeloma shows promise	2024
Mivision	Landmark government funding for Luxturna IRD treatment	2022
National Blood Authority	Australian Bleeding Disorders Registry Annual Report (2019-20)	2020
Bates, S.; NIH	Researchers generate the first complete, gapless sequence of a human genome.	2022
NT Treasury	Population Projections	2024
Omico	The Precision Oncology Screening Platform Enabling Clinical Trials (PrOSPeCT)	2024
Flaherty, C.; OncoLive	Quadruplet therapy and early-line CAR T-cell therapy approvals mark shifting standards in multiple myeloma	2024
Kesireddy, M. & Lunning, M.; Oncology	Relapsed or Refractory Diffuse Large B-Cell Lymphoma: "Dazed and Confused"	2022
OR Clinical Research	The Economic Impact of the U.S.	2024
Parliament of Australia	Biopharmaceutical Industry:	2024
Parliament of Australia	2015 National and State	2022
PBS	Public summary document – Onasemnogene abeparvovec	2020
Perkins Institute	Monoclonal antibody facility	2025

Author(s); Organisation	Title	Year
Bedaso, A., Dejenu, G. & Duko, B.; Psychooncology	Depression among caregivers of cancer patients: Updated systematic review and meta-analysis	2022
Cusack, M.B. et al.; RACGP	General practitioners' views on genomics, practice and education: A qualitative interview study. Australian Journal of General Practice	2021
Rare Cancer Australia	Counting the cost: How we can assess the true value of investing in cancer treatment.	2024
Rare Cancers Australia	Belinda trial: CAR-T therapy delivered earlier for relapsed/refractory aggressive non-Hodgkin lymphoma patients	2024
Rare Cancers Australia	The true value of investing in cancer treatment	2024
Rare Diseases Society Singapore (RDSS)	Rare Facts	2024
RAREST Project	National Recommendations for Rare Disease Health Care.	2024
Retina Australia	Retinitis Pigmentosa	2025
Wongchaisuwat, N. et al.; Saudi Journal of Ophthalmology	Retinitis pigmentosa GTPase regulator-related retinopathy and gene therapy	2023
Jackson, S.E. & Trakhtenberg, I.; Stanford University Press	Predictable Winners: A Handbook for Developing, Forecasting, and Launching New Products and Services	2025
Sheykhhasan et al.	CAR T therapies in multiple myeloma: unleashing the future	2024
Statista	Global spending on precision medicine treatments from 2020 to 2027	2024
Statista	In Vitro Diagnostics – Worldwide	2024
Schofield, D. et al.; The Medical Journal of Australia	The health care and societal costs of inherited retinal diseases in Australia: a microsimulation modelling study	2023

本稿の検討・執筆に関わる L.E.K. Consulting 主要メンバー



井ノ口 雄大 (Yuta Inokuchi)

L.E.K.コンサルティング パートナー 兼 日本法人代表。ヘルスケア/ライフサイエンス領域を専門とし、製薬/バイオスタートアップ、医療機器/診断機器、CRO/CDMO、ライフサイエンス研究ツールにおける企業および投資家向けの成長戦略策定とトランザクションサポートに豊富な経験をもつ



Helen Chen

L.E.K.コンサルティング 中国法人 パートナー 兼 グローバル・ヘルスケアプラクティス共同統括。上海を拠点とし、アジア太平洋ライフサイエンス・センター・オブ・エクセレンスのディレクターも務める。2019年にはConsulting誌の「グローバル・リーダーズ・イン・コンサルティング」に選出



Stephanie Newey

L.E.K.コンサルティング パートナー 兼 オーストラリア法人代表。また同国のヘルスケアプラクティス共同リーダーを務める。戦略・コンサルティング領域で20年以上の経験をもち、バイオ医薬品、ライフサイエンス、医療機器、デジタルヘルス分野に豊富な経験をもつ



Manoj Sridhar

L.E.K.コンサルティング オーストラリア法人 パートナー。ライフサイエンスおよびヘルスケア部門に所属し、戦略策定、業績改善、組織設計における深い専門性を有する。製薬・医療機器企業や政府機関に対し、オーストラリア国内での戦略立案およびM&A支援に幅広く携わる



Tara Naguleswaran

L.E.K.コンサルティング オーストラリア法人 ヘルスケアプラクティスのシニアメンバー。戦略策定、M&A、組織パフォーマンス向上に関して、企業およびプライベート・エクイティ投資家にアドバイスを提供

