



エグゼクティブインサイト

## がん治療用コンパニオン診断薬の新規立ち上げ：製薬企業が取 るべき7つの戦略

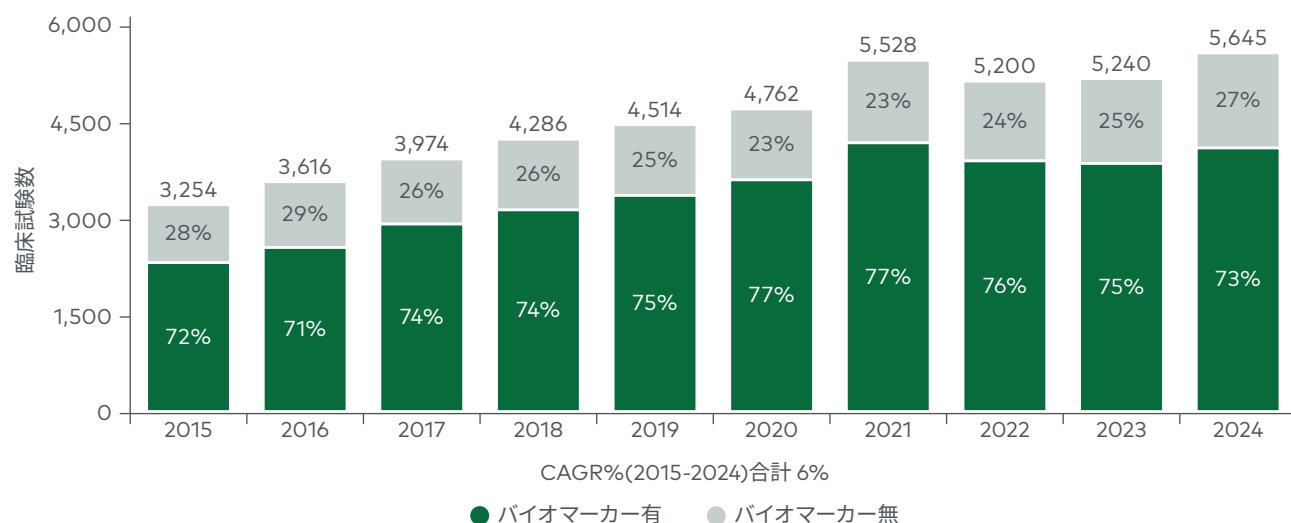
### 重要なポイント

1. 製薬企業は、オプトアウト方式を採用し、前臨床段階から計画的に取り組むことで、コンパニオン診断の早期に統合すべき
2. 診断と治療の開発タイムラインが整合していない場合、収益機会の損失、上市の遅延、市場競争力の低下につながるおそれがある
3. 効果的なローンチを実現するためには、固有の運用課題を克服し、明確な診断戦略を構築し、最適なパートナーを活用することが重要
4. 主要成功要因は、社内における診断領域の専門性強化、部門横断的な連携体制の構築、そして診断技術の進化を見据えた長期的な戦略的計画にある

近年、早期遺伝子スクリーニング、標的療法、そしてその他の精密医療（Precision Medicine）の発展により、がん患者の治療は大きく変革され、治療成績も大幅に向上しています。これらの進歩は、製薬分野への投資拡大を後押しする大きな価値創造にもつながっています。精密医療は、バイオマーカー戦略を活用することで、研究開発の効率化や選択肢の拡大、規制当局への申請支援、小規模で生産性の高い臨床試験の実現を可能にし、治療薬の開発・商業化・差別化を成功へ導きます。しかし、がん領域において精密医療治療薬で商業的成功を収めるには、適格患者を特定し、治療継続の判断に必要なコンパニオン診断薬（CDx）を効果的に導入することが不可欠です。

過去10年間、バイオマーカーを活用したオンコロジー領域の臨床試験の割合は、米国や中国の厳しいマクロ経済環境の影響でパンデミック後に一時的な減少を見せた時期を除き、全体の試験数の増加とほぼ並行して着実に拡大してきました。2024年には、オンコロジー領域の臨床試験全体の約4分の3でバイオマーカーが使用されています（図1参照）。

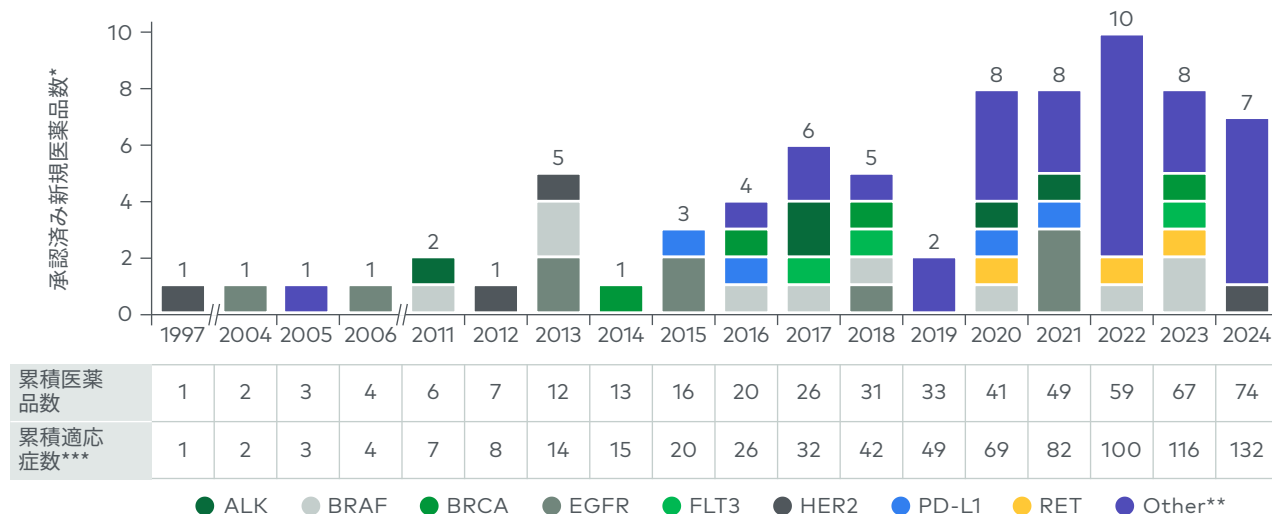
図1  
オンコロジー領域の臨床試験におけるバイオマーカー使用状況 (2015-2024)



注: CAGR=年平均成長率  
出典: TrialTrove; L.E.K. 分析

臨床試験におけるバイオマーカー検査の活用拡大は、予想どおり製品の上市動向にも影響を及ぼしています。米国FDAは、2020年以降、毎年7~10件のCDxを伴うオンコロジー領域の治療薬を承認しています。さらに、従来型のバイオマーカーに加え、新規バイオマーカーへの関心が一段と高まっています(図2参照)。

図2  
FDA承認のCDx付き治療薬 (1997-2024)



\*コンパニオン診断と医薬品の組み合わせの承認件数

\*\*以下の遺伝子変異を含む: BCR-ABL, C-kit, dMMR, ESR1, EZH2, FGFR2, FGFR3, FOLR1, HLA, IDH1, IDH2, Ki-67, KRAS, MET, NTRK, PDGFRA, PI3KCA, ROS1, TP53

\*\*\*適応症とは、抗腫瘍がんタイプ及び検体タイプ (例: 乳がん・非細胞肺癌) を指す

Source: FDA list of approved companion diagnostic devices (accessed Feb. 2025); L.E.K. 調査・分析

診断薬の上市には多くの利点がある一方で、解決すべき複雑な課題も数多く存在します。そのため、治療薬との連携を密にしながら、新規CDxの発売準備を進めることが極めて重要です。L.E.K.コンサルティングは、製薬企業と協力してオンコロジー領域の治療薬向けの新規CDxを上市する過程で得られた知見を基に、共有すべき7つの重要な戦略を明らかにしています。

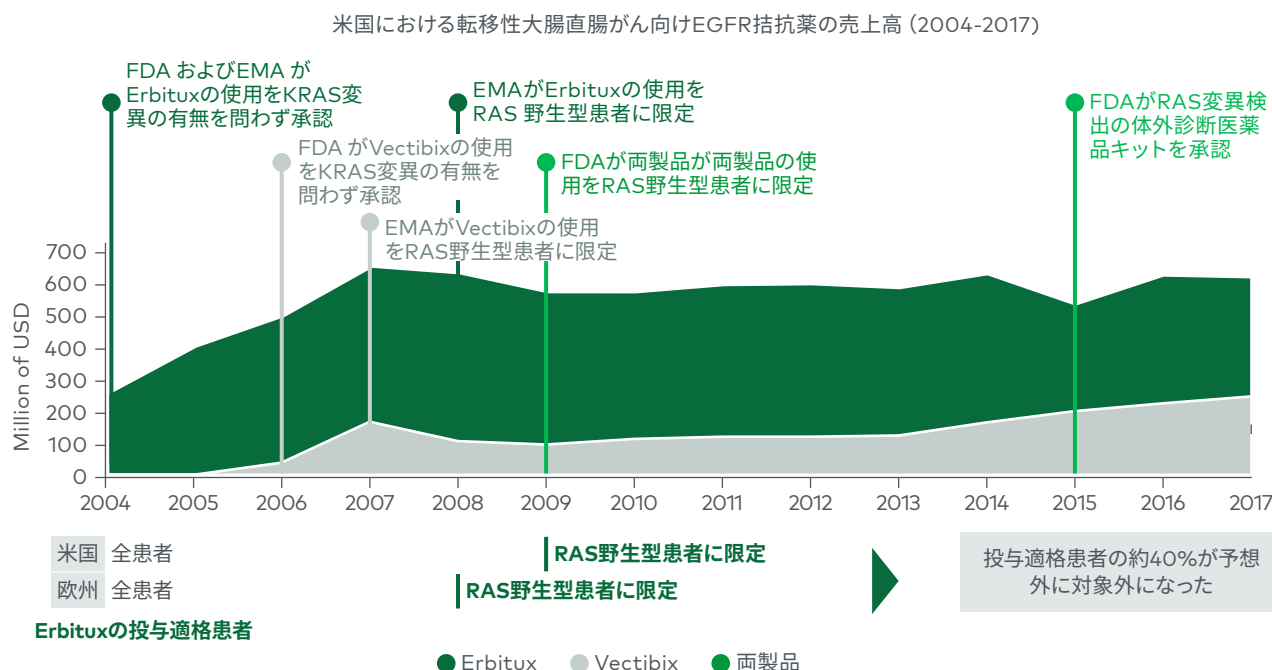
## 1. 「オプトアウト」の考え方を採用する

精密医療分野のリーダー企業は、「オプトアウト方式」を採用しています。新規のオンコロジー領域プログラムは全て診断薬コンポーネントから開始し、開発ライフサイクル全体を通じてニーズを継続的に評価・計画しています。このアプローチにより、精密医療リーダー企業は確立された診断薬リソースと能力を通じて、診断薬と治療薬の開発を効果的に統合しています。汎用的な治療薬の開発を追求することも可能ですが、その場合は臨床的エビデンスに基づいた経営層の積極的な意思決定が求められます。

一方で、「オプトイン」の考え方、すなわち「あらゆる患者を受け入れるアプローチが機能し、バイオマーカー開発は後から追従する」という前提に基づく戦略は、企業の診断薬開発能力やプロセス構築力を制限する傾向があります。特に、診断薬チームと治療薬チームの早期かつ継続的な連携を必要とする医薬品開発プログラムでは、不利に働く場合があります。その一例として、2009年に米FDAは、競合他社のデータに基づき、リリー社のEGFR阻害剤「アービタックス」の適応をKRAS野生型の大腸がん患者（全体の約60%）に限定しました。この決定により、米国市場での採用が停滞し、その後10年間で累積収益に数億ドル程度の影響が生じました（図3参照）。

図3

ケーススタディー：転移性大腸直腸がん（mCRC）でのErbixux売上

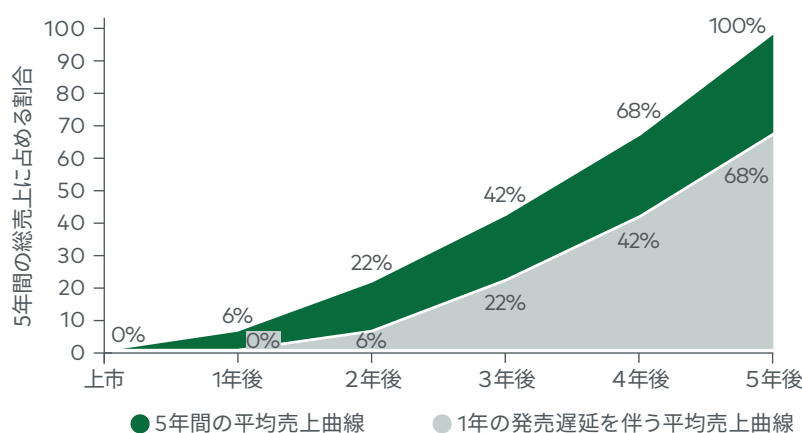


Note: FDA=Food & Drug Administration; EMA= European Medicines Agency; mCRC=転移性大腸直腸がん  
出典: Evaluate Pharma; FDA list of approved companion diagnostic devices; L.E.K. 分析

さらに、過去の傾向から見ると、バイオマーカーを活用した医薬品の上市が1年遅れるだけで、上市后5年間の累積収益が30～35%減少する可能性があると考えられます（図4参照）。

図4  
オンコロジー領域の精密医療の発売遅延による収益損失

5種類の精密治療アナログ\*における、5年間の売上推移（2010-2023）



**発売を1年遅らせた場合、以下の結果が生じる可能性**

- 最初の5年間における医薬品売上の30～35%減という短期的な影響
- 市場に参入する潜在的な競合他社により、時間の経過とともに追加的な収益損失が生じる
- 特許切れまでの市場流通期間が全体的に短縮され、ライフタイムにおける潜在売上の減少

以下の製品を含む: Lynparza (2015-2020), Rydapt (2017-2022), Vitrakvi (2020-2025F), Xalkori (2011-2016), Zelboraf (2011-2016)  
出典: L.E.K. インタビュー・調査・分析; Evaluate Pharma

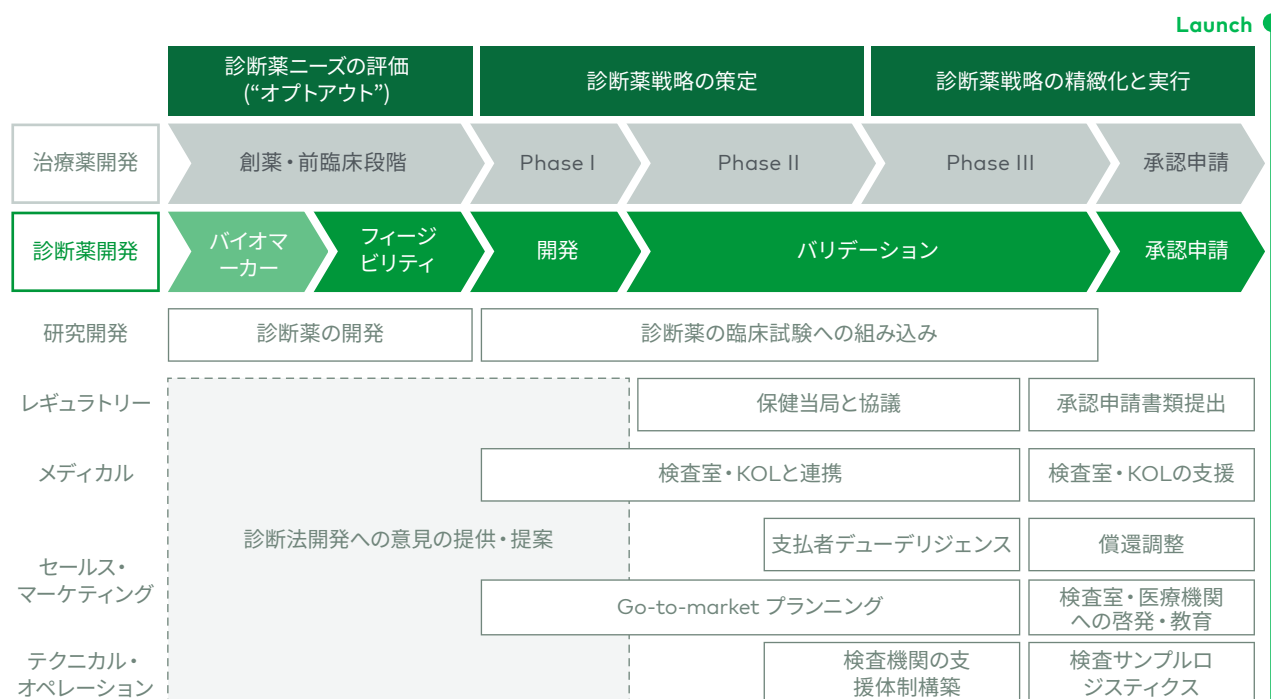
精密医療分野のリーダー企業は、この「オプトアウト」の考え方を組織的に体系化しています。開発チームは初期段階から診断薬のニーズを考慮し、プロセス全体を通じて継続的に見直すことが求められます。具体的には、包括的ゲノムプロファイリング (Comprehensive genomic profiling: CGP) によるバイオマーカー探索、複数の生体サンプルの保存、反応予測因子の特定に向けた事後分析、耐性メカニズムの追跡など、継続的な最適化を行っています。

また、精密医療分野のリーダー企業は治療領域や企業レベルで、明確なリーダーシップを発揮し、機能やプログラムを統合しながら、各プロジェクトへ専念を促す形で組織を編成しています。戦略的な診断薬計画をプログラム全体に組み込むことで、先を見据えた議論や協働を促進し、組織全体で知見とリソースを共有することができます。これにより、効率性と組織的な学習が強化され、持続的な競争優位の確立につながります。

## 2. 臨床前開発段階からCDx導入に向けた計画を開始する

診断薬の成功には、バリューチェーン全体にわたる多機能的なサポート体制が不可欠です。そのため、製薬企業は前臨床段階という早期の段階から、CDxの導入計画を開始する必要があります。診断薬の開発は治療薬の開発と並行して進められ、ローンチ準備に関する主要な活動は、治療薬と診断薬それぞれのマイルストーンに合わせて段階的に実施されます（図5参照）。

図5  
診断薬バリューチェーン全体にわたる主要機能別活動



効率性を高めるには、研究開発部門が前臨床開発の段階から、コマーシャル部門やメディカル部門と密接に連携し、部門横断的な視点を取り入れることが重要です。このようなアプローチにより、診断薬が患者のニーズに適合し、設定された臨床エンドポイントが商業化を支える確かな根拠となることが保証されます。また、コマーシャル・メディカルの準備活動としては、市場理解の深化と啓発、診断薬に特化した戦略の策定、そしてローンチに向けた組織体制の整備に焦点を当てることが不可欠です。これにより、治療薬と診断薬の両面から市場導入を円滑に進めることが可能です。

### 3. CDxを追加する際の特有の業務上の課題に対処する

製薬企業は、診断検査のもつ特有の複雑性が、自社の商業戦略および市場投入戦略にどのように影響するかを慎重に検討する必要があります。開発段階において、個々の診断薬は治療薬とは異なる商業的・技術的な障壁に直面します。これには、タンパク質やDNAといった分析対象物質の違い、PCRや次世代シーケンシング (NGS) などの検査技術、510(k)認可を受けた検証済み機器の有無、そして体外診断用医薬品 (IVD) か検査室開発検査 (Laboratory developed test: LDT) かといった検査形式など、さまざまな要素が関連します (図6参照)。CDxを組み込んだ治療薬の開発を目指す製薬企業は、まず対象となる適応症におけるバイオマーカー要件を正確に理解することが重要です。次のステップとして、分散型検査モデル (decentralized testing model) に対応できるかどうかの判断と、堅牢な償還 (reimbursement) 戦略の構築が求められます。



図6  
診断薬アプローチ検討上の考慮ポイント

診断テクノロジー		
免疫組織化学	PCR	NGS
<ul style="list-style-type: none"> <li>単一タンパク質マーカー／受容体の検査</li> <li>最も低コストで最速で対応可能</li> <li>結果の解釈は容易ではない</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>1〜4種類以上の遺伝子を対象とした検査</li> <li>費用は中程度で、結果判明までの所要時間も適度</li> <li>結果の解釈は最小限の二値的結果にとどまる</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>10種類以上の遺伝子を対象とする広範な検査</li> <li>高コストで、結果判明までに時間を要する</li> <li>解釈は限定的な二値結果にとどまる</li> </ul>

検査方法		
	体外診断用キット	検査室開発検査
検査内容	複雑性が低い 通常は単一項目	より高い複雑性 通常、複雑で多項目
柔軟性	固定化され、変更不可 アッセイは設計・開発され、規制上も「現状のまま」で運用される	進化的 必要に応じて進化・改良が可能
検査場所	分散型 IVD認可機器を使用し、あらゆるCLIA認定ラボで実施可能	集中型、単一拠点 立ち上げには広範なバリデーションを要する、拠点特有のアッセイ
規制環境	FDA規制対象／CEマーク取得が必要(EU) 高い規制基準のもとで管理されるコンテンツ／デバイス	FDA (および従来のCEマーク*) は不要 米国ではFDA承認なしで運用可能
アクセス	保険償還が認められる可能性が高い 信頼性の高い結果を提供できるものとして、一般的に高い信頼を得ている	保険償還が認められる可能性が低い 償還の可否はラボの信頼性や評判に左右される場合がある

注: PCR=polymerase chain reaction; NGS=next-generation sequencing; IVD=in vitro diagnostic; CLIA=Clinical Laboratory Improvement Amendments; EU=European Union; \* 直近まではEUにおいてCEマークが不要であったが、変更となった  
出典: L.E.K. 調査・分析

#### 4. 診断薬 (Dx) の発売戦略を別途構築します

精密医療リーダー企業は、診断薬のローンチと治療薬のローンチを相互に関連しつつも、別個のプロセスと明確に区別して実行しています。両者は異なるステークホルダー層と課題を抱えており、それぞれに特化したアプローチが求められます。主要なCDxのステークホルダーは多岐にわたり、治療薬のステークホルダーとは大きく異なります。例えば、病理医と処方担当腫瘍内科医を比較すれば、その違いは明らかです。したがって、認知度向上や処方意欲の促進には、明確にターゲットを絞ったアウトリーチ活動が最も効果的です。

特に新規CDxのように検査が複雑な場合、ローンチ戦略では、必要な機器や関連技術への対応、LDTのサポート体制、検体前処理に関するガイダンスなど、検査室における実務上の要件を慎重に考慮する必要があります。また、市場アクセス戦略も早期に統合し、償還や流通経路に関する課題に先手を打つことが重要です。

理想的には、企業は発売計画を策定する際に、診断薬と治療薬の発売戦略の相互作用をあらかじめ考慮すべきです。例えば、治療薬において一般的な「治療を受ける患者数」に基づく販売インセンティブは、精密医療環境では適切ではない場合があります。この分野では、スクリーニングを受ける患者数のほう

がより重要な成果指標となることが多いからです。このように、診断薬に特化した発売戦略を独自に構築することで、より広範な採用を促進し、精密医療における総合的な成功機会を高めることが可能となります。

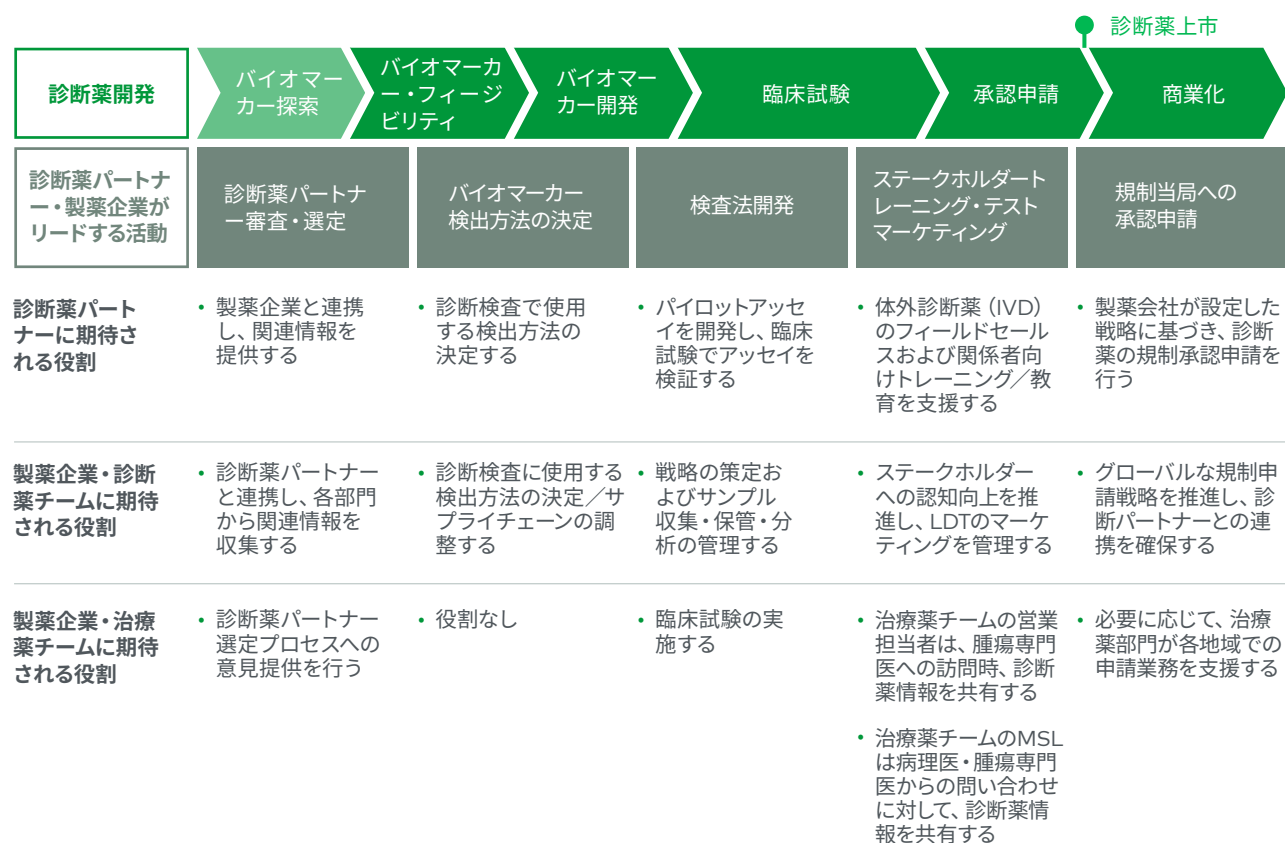
## 5. パートナーの能力を戦略的に活用しつつ、社内の専門性を育成する

製薬企業は、診断薬の開発、申請、製造に関する専門知識を有する重要なパートナーの能力を意図的かつ計画的に活用しながら、十分な監督体制を整えることが重要です。組織の規模や既存の能力によっては、バイオマーカーの選定、検査開発、データ解析、診断薬の販売などの領域で社内のリソースが不足する場合があります。一方、治療薬チームとの密接な連携が必要な活動（例：サンプル収集や保管）や、戦略的性質を持つ活動（例：市場アクセスや価格戦略）は、社内で直接管理する方が望ましい場合もあります。

パートナーと連携する場合であっても、バリューチェーン全体を通して診断薬特有の専門知識を持つ専任の社内リソースを確保することが不可欠です。診断薬と精密医療用治療薬の両方を深く理解する専門家は希少であり、需要が高いため、早期からの人材確保と育成計画が極めて重要になります。外部パートナーの専門知識と社内の基盤知識の適切なバランスを見極めることも成功の鍵です。パートナー企業は、製薬企業の戦略的文脈を十分に理解せず、検査最適化や上市後の活動に十分な投資を行うインセンティブを欠く場合もあります。そのため、内部の監督機能を強化し、パートナー企業と緊密な連携を維持することが不可欠です（図7参照）。

図7

主要開発活動の責任分担：診断薬パートナーと製薬企業チーム



注：IVD=in vitro diagnostic；LDT=laboratory-developed test  
出典：L.E.K. 調査・分析

診断エコシステムを効果的に拡大することで、診断薬の上市における計画・実行の遅延を防ぎ、全体的な上市スピードを高めることが可能です。外部パートナーの活用や、社内専門人材の育成にかかるコストは、単なる必要経費ではなく、製品ポートフォリオ全体の成功を支える戦略的投資として捉えるべきです。

## 6. 組織全体に診断技術の専門知識を浸透させる

診断薬の成功には、診断薬のニーズが全社的に理解・支援され、部門を超えて統合され、適切にスケールし、バリューチェーン全体で優先的に位置づけられる環境の構築が不可欠です。前述のように、「オプトアウト型」の診断薬マインドセットを採用し、早期段階から診断薬の開発および立ち上げに投資するという戦略は、「すべての患者を受け入れる」という従来型の慣性的な考え方と衝突する場合があります。そのため、社内のさまざまなレベルからの抵抗、診断薬開発に伴う高コスト、そして治療薬と比較した際の診断薬事業の収益性の低さといった課題を克服するには、経営層による明確で継続的なコミットメントが欠かせません。また、診断薬投資を優先するにあたっては、部門横断的な連携を促進し、診断薬チームと治療薬チームの活動やインセンティブを整合させる取り組みが必要です。経験豊富な精密医療のリーダー企業は、こうした協業体制を迅速に確立することで、診断薬の開発・商業化を円滑に進め、組織全体としての成功確率を高めています。

## 7. 周到的なライフサイクルマネジメント (LCM) 戦略を組み込む

精密医療分野でリーダー企業としての地位を確立するためには、継続的な進化と改善を支えるライフサイクルマネジメント (LCM) 戦略を計画的に導入することが不可欠です。製薬企業がバイオマーカーを活用したオンコロジー領域の治療法において、持続的な価値と影響力を生み出すためには、早期かつ積極的な戦略立案が極めて重要です。診断薬戦略は上市をもって完結するものではありません。真に効果的なLCM戦略は、次世代技術の予測、適応症の拡大、リアルワールドエビデンス (RWE) の計画立案、主要ステークホルダーとの継続的な関与を可能にします。これらを体系的に実施することで、治療可能性の最大化という最終目標を推進することができます。

L.E.K.は、製薬業界全体における喫緊の課題を継続的に注視し、革新的な知見、最先端の洞察、そして実行可能な支援と戦略を通じて、お客様の目標達成能力の強化に貢献してまいります。

詳細情報のご希望や、製薬ビジネスに新たな可能性をもたらす戦略のご検討に際しては、ぜひ[お気軽にお問い合わせください](#)。



## 著者について



### Aditya Natarajan

Aditya Natarajanは、L.E.K.コンサルティング ポストオフィスのマネージング・ディレクター兼パートナーであり、ライフサイエンス・プラクティスに所属しています。製薬、診断薬、研究用ツールなどの分野で、幅広い治療領域にわたるプロジェクトを主導してきました。特にオンコロジー領域に注力し、大手から新興のバイオフarma企業までを対象に、製品・フランチャイズ戦略、ポートフォリオ最適化、M&A、コマースプランニングなど、重要な戦略およびオペレーション上の課題に対して助言しています。



### Peter Rosenorn

Peter Rosenornは、L.E.K.コンサルティング ポストオフィスのマネージング・ディレクター兼パートナーであり、ライフサイエンスおよび製薬セクターを専門としています。成長戦略およびO&P (Organization & Performance: 組織・業績) に注力し、組織のスケールアップや組織開発、ローンチ計画と商業化、トランザクション支援、予測 (フォーキャスティング) と企業価値評価 (バリュエーション)、さらにPMI (ポスト・マージャー・インテグレーション) など、幅広い経営課題についてクライアントに助言を行っています。



### Alex Vadas, Ph.D.

Alex Vadas (Ph.D.) は、L.E.K.コンサルティングのヘルスケア・プラクティスに所属するマネージング・ディレクター兼パートナーであり、ライフサイエンス・イネーブラーズ・プラクティス (Life Science Enablers Practice) を共同で統括しています。ベンチャー支援企業からグローバルな多国籍企業まで、幅広いプライベートエクイティおよび事業会社のクライアントに対し、コーポレート戦略、プロダクト戦略・計画、トランザクション支援などの分野で助言を行ってきました。ライフサイエンス向けツール/テクノロジー、診断薬および精密医療、先端治療 (Advanced therapy medicinal products など) におけるバイオプロセスングおよび製造を専門としています。



### 井ノ口雄大

井ノ口雄大は、L.E.K.コンサルティングのパートナーであり、ライフサイエンス・プラクティスチームに所属しています。ライフサイエンスおよびヘルスケア分野を専門とし、製薬、バイオテック、医療機器、コントラクトサービス、ライフサイエンスツール、コンシューマヘルスケアなど。国内外の幅広いクライアントに対して、成長戦略、組織戦略、トランザクションサポートを提供してきました。L.E.K.入社以前は、東京およびシンガポールのコンサルティングファームにおいて、日本企業および多国籍企業向けに、アジア太平洋地域での成長戦略・事業開発戦略の策定を支援してきました。

## L.E.K. Consultingについて

L.E.K. Consultingは、ビジネスリーダーとの協働により競争優位性を獲得し、成長し続ける世界的な戦略コンサルティング企業です。その洞察は、クライアントの事業が辿る道筋を再構築するきっかけとなり、機会を明らかにし、クライアントが正念場を乗り越える力となっています。1983年の設立以来、南北アメリカ大陸、アジア太平洋地域、欧州に至るまで、扱った事例は世界中に広がり、グローバル企業から新興企業、プライベート・エクイティ投資家に至るまで、あらゆる業界のリーダーを導いてきました。詳しくは[www.lek.com](http://www.lek.com)をご覧ください。

L.E.K. Consultingは、L.E.K. Consulting LLC.の登録商標です。この文書に記載されているその他すべての製品およびブランドの所有権は、各所有者にあります。©2025 L.E.K. Consulting LLC