

## バーテックス・ファーマシューティカルズ

(9月14日 15:00~16:30)

Vertex Pharmaceuticals, Inc.

主要事業：新薬開発      設立：1989年      従業員：370人  
CEO: J.S. Boger      年商 6200万ドル      時価総額：45億ドル

対応者

- ・ James P. Feeney      Senior Director , Business Development
- ・ Dr. M. Murcko      Vice President & Senior Research Fellow
- ・ Dr. N. Mahanthappa      Manager , Business Development

### 1. 基本的企業戦略

#### ・生物学と化学の融合

分子生物学と化学さらには生物物理学などの先端技術を統合することにより、バイオテクノロジーのツールを用いてタンパク質や酵素の作用を調べ、特定の病気に役立つような最適な分子構造を決定する薬品設計システムを構築。低分子の薬品に特化して開発。



#### ・高い新薬開発効率

新薬開発に必要な専門性のすべてを社内を持ち、多分野の科学者の統合を図ることにより、開発効率を高めている。

開発候補を決める段階での成功率 - 80% (業界平均40%)

化合物研究からフェーズに進む確立 - 80% (業界平均10%)

全体の開発効率 = ×  なので業界平均の4倍

- ・ 新薬の発見から開発、臨床試験、製品化、マーケティングまでの一貫したライン

新薬発見の生産性を高め、広範囲の臨床試験ができるパイプラインを持ち、大製薬会社と提携し、財務を強化。製薬会社とのパートナーシップにおいて、自社でもマーケティングできる権利を確保。

## 2 . 事業目標と事業成果

ヒトゲノムプロジェクトから10万の製薬ターゲットが期待。

ゲノム科学、蛋白科学、ターゲットの有効性確認、遺伝子グループ、毒性情報、工程再構築を基に研究開発し、5年後には年間、臨床試験前の化学物質10件、フェーズスタート7件、フェーズスタート6件、フェーズスタート3件、新薬申請2~3件を目標。

最初の製品、HIV 酵素禁止薬 Agenerase/Prozai は米国と日本で販売に入っており、EU でも今年中に申請の通過を期待。

パイプラインに入っているのは、HIV 薬、C 型肝炎薬、癌薬2点、自己免疫薬、炎症薬2点、神経薬の合計8点で、自己免疫薬は臨床試験前のところ、他は全てフェーズ段階またはそれが完了したところ。

炎症、癲癇、卒中、癌、自己免疫、心臓病、細菌感染、中枢神経症に対する新薬のターゲット分子として9点が研究されており、今年から再来年にかけて製薬候補を決めることを期待。

## 3 . 企業提携戦略

新薬の発見、開発、マーケティングの各段階に関して7社と提携。

- ・ Novartis 社との連携 - 8 億ドルというバイオ製薬史上最大の提携。

Novartis 社は新化学物質8点の全世界排他的権利を持ち、4億ドル以上の無条件出資を行なう。V社はロイヤリティーと米国・EUでの協同販売の可能性を得、化学パテントを持つ。

- ・ 大正製薬との連携 - 脳血栓、心臓血栓、神経退化に対する薬の発見段階での提携。  
3年間の共同研究で、大正製薬側は4300万ドルと基本研究の1/3を分担し、日本での開発と販売権を持つ。V社はパテントを保持し、欧米での全権利を持つ。

- ・ キッセイ薬品と共同開発 - 抗エイズ薬剤「kvx-478」

#### 4 . 人材確保・養成における戦略

- Q. 小規模な会社でありながら、様々な分野から高い専門性を持つ人材を大製薬会社に勝るほどに集められたのはなぜか。
- A. 創立者がその必要性を良く理解していたから。また、多分野の科学者の統合を図るため、彼ら同士が話し合い、情報を共有できるようつとめている。
- Q. ある分野に特化して研究を進めるタイプの研究者は採用しないのか。
- A. 一つのことをきわめてゆく科学者と、いくつもの分野を横断的に研究して行く科学者の二つのタイプがいるが、当社にはそのどちらも必要。

#### 5 . データ公開と特許取得の基準について

- Q. 各ゲノム科学会社がタンパク質や酵素などの特許を取得しているが、その影響はどうか。
- A. 遺伝子に関する特許がいろいろなところで押さえられているが、これらは1 ~ 2%のロイヤリティでライセンスを受けられるのでリーズナブルに処理できる。むしろ古いタイプの製薬会社が膨大な数の人工的化合物を作り、それをそっくりそのまま特許取得してしまうのが怖い。この場合は、製薬自体を阻止される危険性があるからだ。