

「ビルテプソ」を 必要な患者さんに届けるために

日本新薬は新薬開発への挑戦の中で、特に有効な治療法が確立していない難病・希少疾患の治療薬開発に取り組んでいます。その中で、長年、東部創薬研究所で探索研究を行ってきた核酸医薬品「ビルテプソ」が、2020年3月にデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤として日本で承認されました。米国でも2020年8月に承認され、現在は日米で、患者さんやその患者さんを取り巻く一般の方々にも疾患に関する理解向上を目的に、さまざまな情報提供活動を実施しています。

国内

DMDは、出生男児のおよそ3,500人に1人の頻度で発症し、国内の患者数は5,000人程度と推計されています。これまで対症療法としてのステロイド剤使用以外に確立された治療法がなかったことから、日本新薬では、DMDの原因遺伝子に着目した核酸医薬品の研究を2009年から開始しました。核酸医薬品は、特定の遺伝子配列を標的として、その遺伝子から作られるタンパク質の産生を調節することで薬理作用を発揮します。従来の低分子医薬品では難しかった疾患の治療が可能になると期待されています。

「ビルテプソ」開発から製造販売承認取得まで

ビルテプソは、国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センターと共同で見出した国産初のアンチセンス核酸医薬品で、21のモルフォリノ核酸が一行列につながった化合物です。その薬理作用からジストロフィン遺伝子のエクソン43-52、45-52、47-52、48-52、49-52、50-52、52などを欠失したDMDの患者さんに対し、pre-mRNAのエクソン53をスキップさせることで、正常より短い機能が一部を保持したジストロフィンタンパク質の発現を誘導すると考えられます。

本剤は、2015年10月に先駆け審査指定制度の対象品目に、2019年8月に希少疾病用医薬品に指定されました。同年10月には条件付き早期承認制度の対象品目に指定され、本制度のもと国内外で実施した臨床試験結果に基づき、2020年3月に「エクソン53スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー」を効能又は効果として承認されました。

情報提供活動

医薬品の承認後は、その医薬品の価値を適切に医療機関や患者さんに届け、より良い治療効果が得られるよう、患者さんやその患者さんを取り巻く一般の方々にも疾患に関する理解向上を目的にさまざまな情報提供活動を実施しています。

DMDに関しては患者さんが将来、より良い生活を過ごせるよう、ご家族を中心とした周囲の大人がより早い段階で疾患に気づき、適切な医療の機会を与えてあげることや、

一般名：ビルトラルセン



デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療を目的として創製されたモルフォリノ構造を有するアンチセンス核酸製剤。DMDは、難治性進行性疾患であるが、これまで国内には根本的な治療法がなく、疾患の原因に作用する治療薬としてビルテプソが開発された。

学校教育の現場での支援などが大切と考えられています。このような背景から、「知っておきたい子どもにみられる筋肉の病気 ～大人が支える子どもの現在と未来～」と題して、2021年3月20日にWeb市民公開講座（後援：文部科学省および一般社団法人日本筋ジストロフィー協会）を日本新薬 公式YouTubeチャンネル上で開催しました。本講座では、3名の専門の先生に、疾患理解や学校教育といった観点から講演いただき、多くの方々にライブ視聴いただきました。また、現在YouTubeチャンネルでは当日のライブ配信内容に加えて、筋ジストロフィーの患者さんや、そのご家族にもご協力いただき、これまでどのように病気と向き合ってきたかなど、その体験や想いをおうかがいした内容も公開しています。

本講座が患者さんにとって、前向きに生きるための一歩を踏み出すきっかけとなり、また、ご家族や周囲の方々の新たな気づきや変化につながればと考えています。

日本新薬は、今後も疾患啓発活動を継続し、周囲の人々のご理解、ご協力が得られ、DMD患者さんやご家族の生活がより良いものになることを願います。

海外

2020年8月19日、米国においてデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ(英語名: VILTEPSO)」の販売が開始されました。いち早く医療機関や患者さんのもとへ薬剤をお届けするために、同月12日に米国食品医薬品局(FDA)から迅速承認を受け、その1週間後に発売となりました。

米国での自社販売は「ビルテプソ」が最初の製品となり、ニュージャージー州にあるグループ会社のNS Pharma, Inc. (NSP)の医薬情報担当者およびメディカル・アフェアーズ担当者が、医薬品情報の提供・収集および医療ニーズにお応えする活動を行っています。日米に続き、中国においては早期の承認に向け申請手続きを行い、欧州では、早期開発および承認に向けて薬事当局と協議を行っています。その他の地域においても患者さんへ一日も早く「ビルテプソ」をお届けするために対応を検討しています。

米国におけるDMD治療の実態

米国においても日本と同様に、出生男児のおよそ3,500人に1人程度の頻度で発症し、そのうちの歩行可能な患者さんの約400人が「ビルテプソ」の投与対象になると推計しています。これらの患者さんに対して、実際に「ビルテプソ」が投与されるまでの道のりは決して平坦ではありません。

日本では国民皆保険制度が採用されているため、どの医療機関にかかっても、どのような治療を受けても、健康保険証を提示するだけで治療を拒まれることはなく、治療費の支払いが1～3割の負担で済みます。

しかし、米国では保険制度が大きく異なり、患者さんによって加入している医療保険がさまざまであるため、「ビルテプソ」が保険償還されるかどうかは、各患者さんの保険の種類にかかっています。米国の医療保険は、メディケア・メディケイドといった公的保険や多くの民間保険がありますが、無保険者の方も全体の1割程度存在しています。したがって、保険加入状況の異なるこれらすべての患者さんに「ビルテプソ」を適切にお届けするための活動が必要になってきます。この活動を担うのが「NS Support」の役割です。

「NS Support」の役割

加入する医療保険が患者さんごとに異なると、患者さんが来院して治療方法を決める際に、その治療が加入保険で償還されるかどうかを事前に調査することが必要となります。これらの調査や実際の償還手続きは保険によってすべて異なるため、申請業務が医師の大きな負担になっています。

また、米国は日本の26倍もの広大な国土であるため、DMD治療を行う専門施設への定期的な通院が困難な患者さんが相当数に上ります。これらの患者さんには在宅注射治療が行われており、そのための薬剤手配や病院との連携が不可欠です。

これらの事務手続きや交渉に関する患者さんやご家族、医師の負担を軽減するため、「包括的患者支援(HUB)サービス」と呼ばれるプログラムを提供しています。NSPでは、このHUBサービスを「NS Support」という名称で運営しており、医師や患者さんの保険償還手続きの案内や支援、在宅注射治療の薬剤手配などをサポートしています。



米国での自社販売— 販売および情報提供活動体制

米国では、日本のように患者さんの同意のもとで医師の治療方針が決まれば「ビルテプソ」が処方されるわけではなく、保険会社が「ビルテプソ」を償還することに納得しなければ実際の処方には至らないため、個々の保険会社との交渉が必要となります。そのため、この業務を担うのがマーケットアクセス(保険償還担当)と呼ばれる部門です。これは米国特有の機能ですので、現地採用スタッフの活動の一つずつフォローしながら理解を深めていくしかありません。在宅勤務が続く中で現地スタッフとコミュニケーションを図る必要があり、お互いの信頼関係の構築が不可欠です。これら日常の活動の一つずつこなしながら保険会社との交渉を着実に進め、「ビルテプソ」を確実に患者さんの元にお届けできるよう日々努力しています。

NS Pharma, Inc.

米国での情報収集や、医薬品候補品の早期開発を目的として1999年7月に設立。現在、ニュージャージー州パラマス市に拠点を構え、日本新薬が創業した新薬の北米における臨床開発を推進するとともに、欧米におけるライセンス活動や販促活動の拠点としてグローバルな連携業務を担う。

今後のグローバル展開

米国では自社販売体制を構築し、NSPを通じて2020年8月から販売を開始しています。さらに、「ビルテプソ」をグローバル展開するために中国や欧州、その他の地域においても早期の承認取得を目指した取り組みを進めています。中国では、2021年6月に承認申請を行い、承認取得に向け薬事当局と協議を進めています。各国の事業展開の方法については、自社単独あるいはパートナー企業との戦略的提携など、各国の諸事情に鑑みて最適な方法を見極めるべく検討しています。

一方、NSPでは、「ビルテプソ」のグローバル第III相試験をはじめとする各種臨床試験も行っています。今後、より詳細な医療情報を提供するため、臨床データの蓄積とその効果的なデータの活用を計画しています。

当社は、今後も特長のある製品を世界中の医療機関や患者さんにお届けするために、研究開発から製造・流通・販売のすべてにおいて、グローバル事業の展開に適応した組織体制を構築し、これまでに築いた事業のグローバル展開をさらに加速させていきます。第六次5ヵ年中期経営計画期間においては、「ビルテプソ」とそれに続くエクソスキッピング薬やグローバル開発品のパイプラインなどに重点的な投資を行い、グローバル製品の開発を積極的に推進していきます。



新型コロナウイルス感染症 に対する取り組み

新型コロナウイルスの感染が拡大する中で、医療の最前線に立たれている医療関係者の皆さまに心より敬意を表し、深く感謝いたします。

生命関連企業である当社は、従業員の安全と感染リスクに配慮しつつ医薬品の安定供給、治療薬の研究開発など製薬企業の使命を果たすべく、状況に応じた対応に努めています。

安定供給

医薬品の供給については、生産拠点における事業継続計画（BCP）の策定や、独自のチェック項目を定め、リスクを効果的・効率的にマネジメントすることで安全在庫の確保に努めています。また、原料供給に係るリスクについては複数サプライヤーの確保や関係会社との関係を強化することにより、当面の医薬品の生産および医療機関への供給体制に問題はありません。

治療薬の研究開発

日本新薬は核酸医薬などに関する研究開発の強みを生かし、長鎖RNAなどを利用した抗ウイルス薬や、低分子医薬品のリプロファイリングなどの研究開発を進めています。

コロナウイルスは一本鎖のRNAウイルスであり、変異しやすい性質を持っています。当社は新型コロナウイルスのみならず変異型コロナウイルス感染症にも広く適応し、SARSやMERSをはじめ、今後出現する新規のコロナウイルス感染症にも適応できる永続的な抗ウイルス薬の開発を目指し、核酸医薬の検討を進めています。

また、当社は約20年前に100塩基を超える長鎖RNAの合成に成功しており、その優れた基盤技術を用いて、



新型コロナウイルス治療剤以外にもゲノム編集ガイドRNAなどに展開していきます。

さらに、既存薬および現在開発中の薬剤のリプロファイリングによる治療薬の検討も進めています。新型コロナウイルス感染症による急激な症状の悪化には、免疫系の過剰反応（サイトカインストーム）が深く関与しており、これを抑制できれば、重度の呼吸不全を防ぐことができます。ヤヌスキナーゼ（JAK）やインターロイキン6（IL-6）を介した細胞内シグナルを抑制すれば、サイトカインストームは抑制できることが知られており、当社でも取り組んでいます。



テレワーク制度について

2018年1月から時差のある地域と遠隔会議を行う場合に自宅での勤務を認めるテレワーク制度を開始しました。

2019年4月からは、フレックスタイム制度の勤務者に対し、病気や怪我、育児、介護の理由や悪天候による公共交通機関の運休などにより所属事業場への通勤が困難であるなど、一定の条件を満たす場合に自宅や貸し会議室でのテレワークも可能となるよう制度の幅を広げました。

2020年4月からは、テレワークの対象者を「すべての従業員」に拡大しました。また、上記の要件に限らず、新型コロナウイルス感染予防を目的としたテレワークの実

施も可能とし、多くの従業員が実施しました。日本新薬では、テレワークにより柔軟で効率の良い就業環境を実現することが、業務効率の向上、通勤時間の短縮および負担減少、ならびに育児・介護と仕事の両立支援に資すると考え、2020年11月にテレワーク制度を見直しました。これにより、セキュリティ上の問題や業務特性によりテレワークが実施できない場合を除き、各自の業務状況やライフワークバランスに合わせて、全従業員が所属事業所以外の場所で業務を行うことを可能としました。

デジタルデバイスの充実によるコミュニケーションの活性化やテレワーク下での心理的安全性の確保に取り組み、さらなるテレワークの浸透や生産性向上を目指します。

感染拡大防止に向けた取り組み

勤務体制	- 対応可能な業務については、可能な限りテレワークによる在宅勤務を実施しています。 - 出社が必要な場合は、混雑時の公共交通機関での移動を避けるためフレックスタイム制度や時差勤務を積極的に活用しています。 - 従業員に対する新型コロナウイルスワクチン接種のための特別休暇・離席対応の導入。
社内会議・出張	- 社内会議は、原則オンライン会議とし、対面の場合は、30分以内での実施を推奨しています。 - 都道府県をまたぐ移動を含め、出張は原則自粛としています。 - 会議室や居室、食堂に飛沫拡散防止のアクリル板、構内の建物出入口、居室に手指消毒液を設置しています。
懇親行事、イベント、クラブ活動など	社内で業務外で行う懇親行事、イベント、クラブ活動などはすべて禁止しています。
営業活動	訪問先の状況をしっかり確認し、ルールに沿った活動を徹底しています。
感染防止の徹底	- 出社前の検温など健康チェックと行動記録の保存を徹底しています。 - マスク着用や手洗い、咳エチケットなど基本的な感染対策を実施しています。
緊急事態宣言発令地域の対応	- 原則テレワークでの在宅（自宅）勤務としています。 - 出社率30%を基準に各部門の業務特性やオフィススペースを考慮して調整しています。 - 営業活動はWeb面談および電話面談を優先し、直行直帰を推奨しています。
職域接種	京都にある本社地区において従業員ほか、派遣社員、業者の方々を含め、新型コロナワクチン職域接種希望者約1,000名に対して、7月上旬に1回目、8月上旬に2回目接種を完了しました。

DX推進に向けた取り組み

日本新薬では、デジタルの活用を持続的な成長に向けた経営上の重要項目の一つと位置付け、デジタルトランスフォーメーション(DX)を推進しています。2020年度には、DX担当部門として情報システム部内にデジタル企画推進課を新設するとともに、全社横断の「DX推進プロジェクト」を立ち上げ、全社的なDX推進を加速させています。

日本新薬のDX推進の取り組み

日本新薬では、各業務部門でAI、IoT、RPA※などの活用拡大に取り組んでいます。全体最適を実現し、競争優位性を高めるためには、組織的に全社のDX推進を加速させる必要があります。マイルストーンの一つとして「DX認定」および「DX銘柄」の認定取得を目指しており、デジタルビジョン・デジタル戦略の策定、DX推進体制・ガバナンスの構築を進めています。

また、デジタルを活用した全社の生産性向上や働き方改革、コスト最適化および新規ビジネスの創出などを本格的に進めるため、組織のあり方や人材配置を柔軟に見直していきます。デジタル人材の育成面では、大学の育成プログラムへの参加、学習・資格取得支援などを実施しており、今後もスペシャリストの育成と全従業員のITリテラシー向上を実現していく方針です。

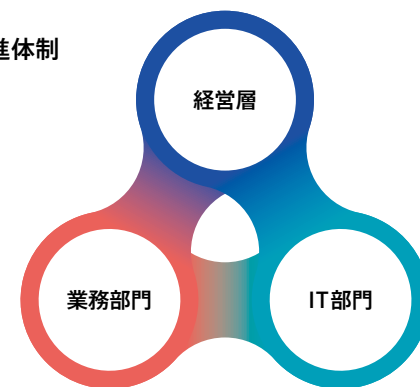
※ RPA:「Robotic Process Automation」の略。「デジタルレイバー」や「仮想知的労働者」とも言い換えられており、パソコン上で行う業務を自動化するソフトウェア型のロボットツール

DX推進体制およびデジタル人材育成戦略

現在は、デジタル企画推進課が中心となり、最新デジタル技術の情報収集や導入、各業務部門のニーズ把握、デジタル人材の育成などを行っています。一方、全社的なDX推進を加速させるには、機能や権限を強化した組織・体制が必要であると認識しており、DX推進プロジェクトでは今後のDX推進体制についても議論しています。

デジタル人材の育成については、全従業員を対象として、選抜型のDXスペシャリスト育成教育と、全従業員のITリテラシー向上施策を二本の柱として実施しています。

DX推進体制



デジタル人材育成

選抜型DXスペシャリスト育成教育

- データサイエンティスト育成教育
- ジェネラリスト育成教育
- データエンジニア育成教育

※ 各5名選抜のオンライン集合型研修



全従業員 ITリテラシー

全従業員ITリテラシー向上施策

- 社内デジタルWeb講演会 (10回開催、延べ参加者数 約1,500人)
- Webスキル向上セミナー (2回開催)
- 社内デジタル情報誌発行 (社内ポータル) (毎月3~4回発行、全42刊発行)
- ITパスポートなど資格取得推進プログラム (129名参加)
- リバース・メンタリング (1回開催)
- ITよろず相談会 (約20件) など

※ () 内は2020年度実績

DX取り組み事例

事例 01 デジタルソリューションの導入・利活用

変化の激しい不確実な現代においては、これまで以上に的確かつ速やかにニーズをとらえ、柔軟にデジタルソリューションを導入し利活用することが求められます。そこで、当社はニーズを把握する業務部門を主体とし、情報システム部門が技術的にサポートする方法でデジタルソリューションの検討・導入を行っています。これにより、導入後のデジタルソリューション利活用の最大化につなげています。これまでに、くすり相談業務におけるAIによる音声からの文字変換、製品に関する社内問い合わせにおけるAIチャットボットなどを導入しています。

RPAによる定型業務の自動化については、部門や業務を問わず全社的に拡大しています。2020年度には全社で約100個の業務をRPAで自動化し、およそ1万時間の定型業務を自動化しました。RPAにより、定型業務からの解放と創造的な業務へのシフトを実現でき、従業員のモチベーション向上にもつながっています。

全従業員が利用するデジタルソリューションとしては、2020年度に「いつでも、どこでも、だれとでもつながる」をテーマとしたMicrosoft 365やTeamsの導入など、情報共有基盤を構築しました。これにより、テレワークでもオフィス勤務と遜色ない業務遂行が可能となり、新型コロナウイルス感染予防対策にも貢献しています。



RPAを導入した13部門がエントリーした「RPAロボットコレクション」を開催。小田原総合製剤工場製造企画部が社長賞を受賞しました。

事例 02 楽しく参加するデジタル人材育成プログラム

2020年度から全社ITリテラシー向上施策として、最新デジタル技術や社内デジタル関連活動を紹介する「社内デジタルWeb講演会」を月1~2回の頻度で開催しています。本講演会はWebで開催しているため、全国の事業所からでもスマートフォンやタブレットなどのスマートデバイスから、業務時間を調整して手軽に参加できます。今後も月1回以上の開催を継続して実施し、全従業員が常にデジタル情報に触れる機会を公平に提供することで、全従業員が楽しく前向きにDXに取り組む環境を構築していきます。

また、デジタルを題材としたリバース・メンタリングも2020年度より開始しました。デジタルに強い若手従業員が普段接する機会が少ない経営層に対して、デジタルスキルや最新トレンドなどを指導・提供する取り組みとして、継続開催しています。



若手社員と高谷取締役がリバース・メンタリングを行いました。

DXは「目的」ではなく「手段」である

DXは業務変革や生産性向上、新規ビジネス創出などの「手段」の一つであり、DX自体が「目的」ではありません。そのため、全従業員を巻き込んでDXを推進することは、全社の風土変革や人材育成の大きなチャンスと考えています。デジタルソリューション導入やデジタル人材育成を実施することをきっかけとして、自身の担当業務や業務プロセスを見直し、ビジネスパーソンとしてのスキル開発に前向きに取り組むようになることが、当社の財産になり今後の持続的な成長につながると考えます。これからもDX推進に向けて、「全従業員が「スマイル」になれるよう、楽しく前向きに!」を心掛け、さまざまな取り組みを行っています。



情報システム部
デジタル企画推進課長
松永 堅二