

HEALTH ADVANCES

バイオテックを止めない：  
初期投資家たちを  
引き寄せるための  
5つの方法

parexel<sup>®</sup>  
BIOTECH

「投資家は、売り込みに来たスタートアップ企業のごく一部にしか資金提供しないと断言しています。投資家を最も惹きつける企業は、基礎科学から商業化に至る製品やプラットフォーム技術の施策をきちんと立てる力があります」

バイオテクノロジー企業は今日の医薬開発におけるイノベーションの重要な推進力であり、そのパイプラインは近年急激に拡大しています。この拡大により、多くの治療適応の患者さんに希望がもたらされます。また、それによって金融機関、業界パートナー、投資家の未来の投資にも道が拓かれます。

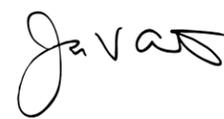
過去2年間、金融市場の記録的な資金提供により、バイオテクノロジー企業は支援を受けてきました。短期の経営存続にはキャッシュが重要である一方、医薬開発は依然として長期かつ複雑な取り組みです。自社のバリューストーリーを問い直し、商業機会を多角的に分析し、最近の技術進化の臨床研究への応用といったことを活用できている企業は、より多額の資金を調達し、それを必要とする患者さんに新たな治療法を届けられる可能性が高まります。

Parexel Biotechでは、専門知識の補完、グローバルな規制環境に関する情報提供、分散型臨床試験やリアルワールドエビデンス等のツールを用いた多様なエビデンスセットを収集することで、日々お客様を支援しています。数千件におよぶ臨床試験を実施してきた実績を持つ弊社は、投資家が重視する価値の転換点に到達するためには何が必要かを知っています。**弊社はバイオテクノロジー企業を応援しています。**

投資判断を行うバイオ製薬企業の専門家を対象とした新規調査と、著名な投資会社への詳細なインタビューからは、企業が一貫したデータに基づいたバリューストーリーを語れるということがいかに重要であるかが示されました。弊社は顧客企業を支援するための5つの戦略を打ち立てました。

- ▶ 満たされていないニーズの定義を拡張する
- ▶ 開発計画のリスクを排除する
- ▶ イノベーションの活用でスケジュールを加速する
- ▶ 潜在投資家に関して事前調査を行う
- ▶ 出口戦略を理解し、柔軟に対応する

この新しいデータが**決してバイオテックの歩みを止めない**ために、お客様の資金獲得の手助けになることを願っています。



**Jim Anthony**  
エグゼクティブバイスプレジデント兼グローバル責任者  
Parexel Biotech



Parexel Biotech の調査では、バイオテクノロジー分野の投資家は満たされていないニーズの綿密かつ多面的な分析、現実的な開発計画、次なる価値の転換点への明確な方針を求めることが分かりました。

# 熱い市場がもたらす リスクとチャンス

多少落ち着きつつありますが、バイオテクノロジーは今なお人気の市場です。2020年と2021年には、新型コロナウイルスワクチンの迅速な開発と成功もあり、バイオ製薬企業部門は資金調達、取引、M&A 件数のいずれにおいても過去最高を更新しました。パンデミックの開始以降、バイオテクノロジー企業の平均手元資金は 2.1 年から 2.7 年に上昇しました<sup>1</sup>。

市場の過熱は、新興企業のリスクを増大する可能性があります。例えば、仮説の徹底した検証や、凡庸なプロジェクトを中止させる意欲を減退させかねません。同様に、投資家やライセンサーについても、資金の拠出や調達にやや無頓着になったり、デューデリジェンスの基準を下げってしまう可能性があるでしょう。

このようなリスクはあるものの、バイオテクノロジー企業に対する投資家の熱量がチャンスを生んでいます。企業は複数の証券市場や私募を通じてより多くの現金を調達し、それによって開発を継続し、気まぐれな市場から新薬候補（アセット）を保護できる可能性が生まれます。また大手製薬会社からの買収や提携が増える可能性もあります。特に開発の初期段階で、投資家が望むものを理解している企業であれば、こうした機会を上手に捉えることができるでしょう。

このような背景から、Parexel Biotech は 2021 年 11 月、投資、買収、各種契約の意思決定権を持つバイオ製薬企業の重役を対象にした調査を依頼し、さらに各投資会社への詳細なインタビューも行いました<sup>2</sup>。弊社の調査によると、投資家は初期の化合物を探しており、満たされていないニーズを十分に検討し、信頼できるデータを用いて優先順位を決めているということが分かりました。投資家は、売り込みに来た企業のごく一部にしか資金提供しないと述べています。投資家を最も惹きつける企業は、基礎科学から商業化に至る製品の施策をきちんと立てる力があります。

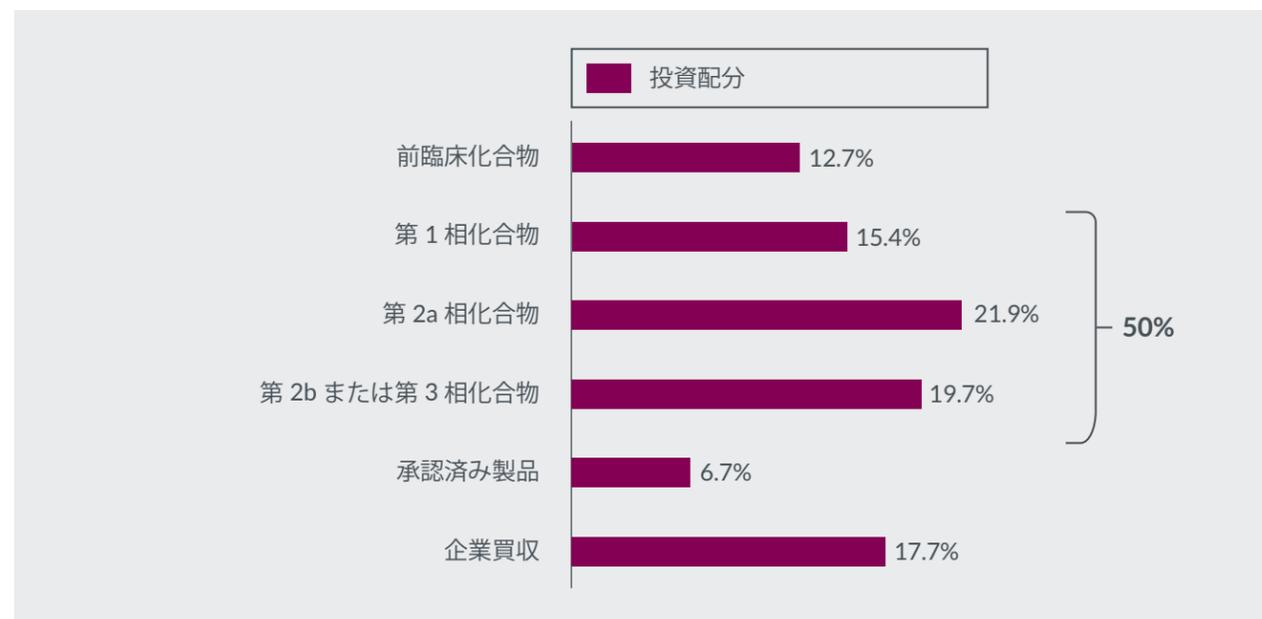
<sup>1</sup> Jefferies Equity Research, Pharmaceutical Svcs., "August Biotech Funding: Eating into the Cushion," September 13, 2021.

<sup>2</sup> 買収、ライセンス導入、提携に向けた社内外化合物（および企業）の評価を行う、北米およびヨーロッパのバイオ製薬企業の専門家を対象にした調査を [Industry Standard Research](#) (ISR、ノースカロライナ州ローリー) が実施。ISR はまた、投資会社への詳細なインタビューも行った。



# 投資家はデータ主導の価値提案を伴うアーリーステージ新薬候補を重視

図 1. 投資額の半分が前臨床および第 2a 相の新薬候補に投入されています。



出典：ISR が実施した 2021 年 11 月の投資家調査。調査対象者への質問：「前臨床または開発段階にある個別化合物、承認取得製品、または会社全体で、それぞれへのバイオ医薬品の投資額の配分をドルベースの金額で教えてください」。不完全な回答があったため、合計が 100% になっていません。

弊社が調査を行なったバイオ製薬企業の投資家は、年間研究開発予算が 5 億ドルを上回る企業に勤務しています。彼らのバイオテクノロジー企業への投資額の 70% は商業化前段階の化合物に投資され、その半分が前臨床、第 1 相、または第 2a 相の開発段階にある化合物が対象です（図 1）。

平均すると、今回のバイオ製薬企業調査の回答者は、年間約 18 件の投資機会を公式に評価し、そのうち 4 件（範囲：0 件～ 20 件）に投資しています。

インタビューを行なった複数の投資会社は、投資家間の競争激化のため、ますます前臨床に注目が集まっていると述べています。

「競争が非常に激しくなっています。数年前までは、第 1 相と第 2 相にある新薬候補が注目されていましたが、今では治験薬 (IND) 申請までまだ約 1 年かかる前臨床にまで関心を持たれます」と話してくれました。

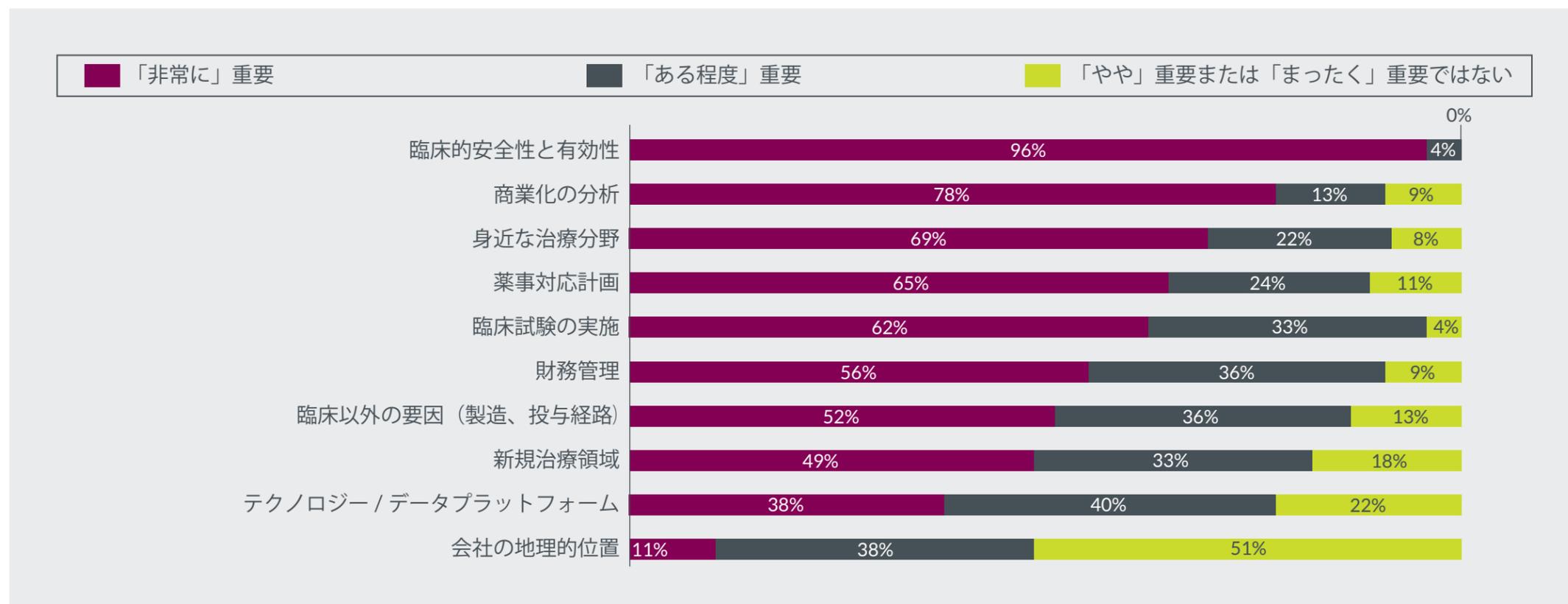
投資家たちは、検討したプロジェクトの 3～ 10% にしか投資しないと答えました。ある投資家は、「100 件の投資依頼の内、まともな投資先は 10 件しかありません。デューデリジェンスを行なった後で、投資するのはそのうち 3 件程度です」と述べています。大手投資会社のある投資家は、「およそ年間 2,000 件を検討し、去年は新規に 15 件の投資を行ないました」と、迅速に対象を絞り込みしていることが確認されました。

バイオ製薬企業の投資家が投資対象化合物の評価で重視する3大特性は、「臨床的安全性と有効性」、「商業化の可能性」、「身近な治療分野(TA)」となっています(図2)。また臨床前の化合物の評価を日常的に行っている投資会社も、対象となるTAが重要だと述べています。ある回答者は、「運用先は、経験と実績がある領域が望ましいです」と語りました。

最も重要な特性を1つだけ選んでもらったところ、投資家の58%が「臨床的安全性と有効性」、13%が「商業化の可能性」、4%が「臨床試験の実施」を選択し、身近な治療分野(TA)、財務管理、臨床以外の要因を選択したのは2%でした<sup>3</sup>。69%が当該TAに関する経験、または専門知識があることが「非常に重要」と回答し、ほぼ半数が新規TAを取り込むポートフォリオの拡張も同様に重要であると述べています。

調査回答者の64%が、買収対象企業を評価する際に、単一の新薬候補しかない企業よりも、プラットフォーム技術を有する企業のほうが魅力的であると回答しています。また、買収対象企業を評価する際の最も重要な基準は、「臨床的安全性と有効性」データ(51%)、「商業化の可能性」(18%)、「財務管理と地理的位置」(各4%)、「新規治療領域」(2%)の順になりました。これは多くのバイオファーマ企業が、買収によってパイプラインを多様化していることを示唆しています。

図2. 安全性と有効性、商業化の分析、治療領域が、候補化合物の極めて重要な特性です。



出典：ISR が実施した 2021 年 11 月の投資家調査。調査対象者への質問：「特定の化合物への投資を評価する際、次の各項目はそれぞれの程度重要ですか？」

<sup>3</sup> ISR Biotech Investment Survey、2021 年 11 月。

# 5

## アーリーステージの投資家とパートナーを惹きつけるための5つの戦略

新製品の上市確率を高めるためには、新興企業は開発の初期段階から複数の投資家やパートナー候補との関係を構築しておかなければなりません。弊社ではオンラインによる投資家調査、投資家へのインタビュー、バイオテクノロジー顧客企業との協力に基づき、新興企業がアーリーステージの資金調達を獲得するために、価値提案を差異化する5つの戦略を特定しました。

# 1

## 満たされていないニーズの定義を拡張する

新製品が事業として失敗する主な理由は、満たされていない医療ニーズの理解不足と、既存治療との差異化ができていないことの2点です。ほとんどの企業は、新薬や新しい医療機器が商業的成功を収めるには、患者さんのアンメットニーズを満たす必要があることは分かっていますが、資金調達への影響を考慮していない場合があります。調査によって、商業戦略と分析の強さが、投資家にとっての最重要事項であることが分かりました（図1）。

満たされていない患者さんのニーズは、説得力のあるビジネスチャンスを確認するために不可欠ですが、企業は次のことも考慮しなければなりません。

- ▶ 現在および将来の競合する治療法と比べ、この製品はどのように差異化されているのか？
- ▶ 医師からの支持を獲得する要因は何か？診療における経済性や物流面でも有利か？
- ▶ 保険者がこの製品を愛用する理由（低い自己負担など）はあるか？
- ▶ 開発コストは、満たされていないニーズにも合致し、かつ代替品との比較でも魅力的な価格を可能にするか？
- ▶ 最も価値のある対象患者は誰か？さまざまな潜在的な患者グループに対するリスク・ベネフィット評価はどのようなものか？

投資家は保険適用、迅速で着実な浸透、持続的な商業的可能性が伴わない薬事承認は、魅力的な投資利益率(ROI)が得られないことを知っています。臨床試験後期のはるか前に売り抜きたいという投資家は、製品の商業化の可能性が、次の投資家や多国籍パートナーを引き寄せる鍵であるということを知っており、彼らのROIはここにかかっています。

ある投資家は、前臨床段階での投資を評価する際にも、新製品の投与経路やテクノロジーのプラットフォームが、パートナー各社間の激しい議論的となることがあると語っています。「経口投与なのか、静脈内投与なのか？患者さんは毎日の注射に耐性があるのか？この適応に皮下注射は有効なのか？これらは患者さんのコンプライアンス（服薬遵守）に影響する重要な戦略課題です」

熱心に研究はしても、商業化についてすべての質問に答えを用意できるアーリーステージの企業は、ほとんどいません。しかし、その複雑性や複数のステークホルダーを認識していると示すことはできます。重要なステークホルダーたちに対して、製品をどのようにアピールできるか、どれだけ多くの質問に答えることができるかによって、企業は説得力のあるバリューストーリーを語るすることができます。



「ほとんどの企業は、新薬や新しい医療機器が商業的成功を収めるに、患者さんのアンメットニーズを満たす必要があることは分かっていますが、資金調達への影響を考慮していない場合があります」



商業化の機会：

## 満たされていないニーズの特定より困難

米国では「依存性がなく、広く使われているオピオイド系製剤より安全性の高い鎮痛薬」という明確なアンメットニーズがあります。しかしながら、新規の作用機序を有し、なおかつリスク・ベネフィット評価が改善された製品であったとしても、この臨床環境では説得力のある価値提案ができないかもしれません。なぜでしょうか？

- ▶ オピオイドは効能も有効性も高い鎮痛剤であるため、新規参入品にも同等の効果が必要。
- ▶ 高用量アセトアミノフェン、非ステロイド系抗炎症薬 (NSAIDs)、理学療法、鍼灸などの従来の治療法は、多くの患者さんに有効。
- ▶ 疼痛治療薬は経口投与が一般的であり、注射剤等で患者さんが不便だと感じる治療は拒否される場合がある。
- ▶ ほとんどの疼痛治療薬は、比較的安価なジェネリック医薬品であるため、高コストの新規治療には厳しい目が向けられる可能性がある。

満たされていないニーズの徹底的な分析を怠ると、市場規模や普及のスピードを過大に予測してしまう結果になりかねません。インタビューしたある投資家は、「完全に対応可能な市場規模」について、「大袈裟な数字を提示する」ような企業は特に避け、科学性や潜在患者集団の詳細な評価に関する洗練されたプレゼンテーションを重視すると語っています。別の回答者からは、「患者さん第一に考えるということと、なぜその患者さんが出回っている製品よりも高価な新薬を必要とするのかを考えないといけません。同等品がないのであれば、当然ですが明らかに満たされていないニーズがそこにあるということになります」という助言がありました。

# 2

## 堅固な計画の策定、 その後のリスク軽減



投資家やパートナーは、お客様の主力製品プログラムについて、透明性があり、十分に吟味されたデータパッケージと臨床開発計画を検討したいと考えています。成功の確立を過大評価するような、不十分または不完全なプレゼンテーションは、信頼性を損ないかねません。例えば、次の価値変曲点到達までにかかる時間と費用を過小予測している場合、投資家たちはお客様の臨床計画に不備があるのではないかと、あるいは対象とする適応症の医薬開発業務を正確に把握しているかどうかについて、疑問を抱くでしょう。

開発のごく初期段階の新薬候補や、プラットフォーム技術であっても、事業計画には健全な科学とデータによる裏付けが必要です。それが担保されているかどうかは、投資家がデューデリジェンスの際に見抜きます。ある投資家は、「弊社には科学を検証するための博士号を持つスタッフがおり、投資判断がデューデリジェンスの一定段階まで進んだ時点で、重要な8～10個の疑問点に答えられる外部専門家に依頼します」と語っています。「われわれはこれを『ピアレビュー』と呼び、その回答を基にして取引から撤退したことが何度もあります」

包括的な前臨床概念実証(POC)業務に投資するアーリーステージ企業は、他社より優位に立つことができます。経験豊かな投資家や潜在的な買収企業は、質の高いデータに裏付けされた開発計画であることの証しとして、薬理モデリングや患者反応のシミュレーションを求めています。

弊社がインタビューしたすべての投資会社が、一流の科学諮問委員会(SAB)とキーオピニオンリーダー(KOL)との連携により、外部検証が提供され、投資案件のリスク軽減につながっていると述べています。「もしノーベル賞受賞者やハワード・ヒューズ医学研究所の治験担当医がSABにいるのならば、それは大きな意味があるでしょう。人材

の優秀さを代弁しているからです」と、ある投資家は語ります。投資家はまた、大手企業とのライセンス契約も重要だと述べています。

開発計画書には、新薬候補のリスクを軽減するための複数のマイルストーンを含むべきです。アーリーステージの投資家たちは、リスクに慣れているとはいえ、資金と時間を投入する前には徹底的にそのリスクを分析します。例えば、臨床POCデータ(第1b相または第2a相臨床試験終了時に得られる)はリスクを軽減するため、主要な価値の転換点になります。このマイルストーンのタイミングを見積もるには、臨床試験業務、迅速な薬事審査の仕組み、関連する治療領域についての深い専門知識が必要です。新規作用機序を有するファースト・イン・クラス製品(画期的医薬品)のタイミングは、特徴の明らかな疾病向けのベスト・イン・クラス製品とは異なるでしょう。

リスク低減は、プラットフォーム技術の提供や、パイプラインの多様化によっても可能です。プラットフォーム企業は、投資家に複数の「ゴールシュート」を提供するという理由もあり、現在では好ましい存在となっています。しかし、治療領域の専門知識に基づき、魅力のある分子のポートフォリオを構築する企業も成功を収めています。

リスクを理解し、不測の事態に備えた計画が、企業の実力を示すこととなります。プランAが機能しない場合のバックアップ計画についても、臆することなく議論してください。同じ薬剤の追加試験を別の疾病でも実施するといった、十分に検討された複数のプランBを示すことで、お客様が現実に即しており、かつ回復力が高いことを投資家に知ってもらうことができます。

# 3

## イノベーションの活用で開発を加速する

昨今の医薬品開発用ツールや技術の進歩によって、リスクを軽減し、新製品の上市コストを下げられる可能性があり、投資家たちもそれを熟知しています。例として：

- ▶ この10年間で [DNAシーケンスコスト](#) が大幅に低下。
- ▶ バイオマーカーを用いて開発された医薬品の成功率は、そうでないものと比較して [2倍](#) になる。
- ▶ 機械学習、自然言語処理、人工知能は、医学文献のレビューを加速させ、臨床試験を実施する国や施設を最適化し、治験施設の近くにいる患者さんを探すことで、被験者登録を迅速化できる。
- ▶ コンピューターモデリングや医薬品開発業務受託機関(CRO)は、小規模企業が人手をかけずに初期試験を完了するのに役立つ。また研究スペースを借りたり、データの処理・保管にクラウドサービスを活用することで、運営コストを削減することが可能。
- ▶ 合成対照群(SCA)により、初期かつ小規模のデータセットの有意性が向上し、それによってプラセボ治療群の患者数を減らすことができる。
- ▶ 代替エンドポイントと中間エンドポイントは、[開発スケジュールを短縮](#) できる。
- ▶ アダプティブ臨床試験、バスケット試験、分散型臨床試験(DCT)により、臨床研究を効率化できる。

これらの強力なツールは、総合開発計画に組み入れなければなりません。ある回答者は、「私たちが尋ねていることは、第1b相および第2a相で何を証明できるかということです。もし、ある分子に対するあなたの戦略が、無作為化対照試験を必要とし、そこで初めてデータを信じてくれる人が現れるというのであれば、効率的な撤退の決定を行うのは困難でしょう。早期にターゲットに対する何らかの根拠が必要であり、単群試験で確認できるものでなければなりません」と説明してくれました。

販売開始までの期間が短縮されるため、投資家は第1相の用量漸増試験から登録試験までのシームレスな実施計画を立てる企業を評価します。しかし、製造上の課題や保険者向けデータセットの効率など、短縮された開発期間の複雑さに対処できる企業であると、投資家が確信できる必要があります。数年にわたる高品質な自然史(NH)試験が、超希少疾患の治療基準を確立できる唯一の道であるかもしれません。そして、上手に設計されたSCAによって、NH試験の必要性が省略される可能性もあるでしょう。ただし、SCAを使用する予定がある場合は、適応症においてデータの標準化と調和が取れるようにする必要があります。

新型コロナウイルスのパンデミックにより、臨床開発の加速、リモート試験、薬事規制の柔軟な適用、当局による迅速な審査が可能であることが示されました。投資家たちは、これらのツールを活用する企業を求めています。



# 4

## 潜在的な投資家を把握する

「経験豊かな投資家や潜在的な買収企業は、質の高いデータに裏付けされた開発計画であることの証しとして、患者反応の薬理モデリングやシミュレーションを求めています」

潜在的な投資家やパートナーを調査している新興企業は、自社がなぜ彼らに適した対象であるかについて、より説得力のある主張ができます。バイオテクノロジー分野の投資家や経営者のコミュニティは小さいため、新興企業は投資会社の実績、ポートフォリオに含まれる企業、投資理念についての情報を集めるために、さまざまな問い合わせを行うことができます。

とはいえ、ほとんどの企業は自社が彼らの投資戦略に適合していなくても、投資家と会う機会は得られるでしょう。この状況においては、ちょっとした調査が大きな役割を果たします。

ほとんどのベンチャーキャピタルは、シリーズ A や B といった投資ラウンドや、優先する初期投資額を持っています。シリーズ A の資金調達を求めている前臨床資産を持つ企業の場合、C や D の投資ラウンドで臨床データを含めた新薬候補を有する企業に大きく賭けたい投資会社や、コーポレートベンチャーキャピタルとは上手く行かないでしょう。彼らの求めているものを把握しましょう。細部を重視するのか、それとも一般論を好むのか？ または経験豊富な経営陣を求めているのでしょうか？ 彼らの投資先はオーファンドラッグですか、プラットフォーム技術でしょうか？

ある投資家によると、リード化合物を持つプラットフォーム技術企業であれば、3～5年以内に臨床 POC に到達できることを 2 千万～3 千万ドルで実証する必要があるそうです。これが彼らの ROI 目標の達成に必要なことなのです。

企業がきちんと事前調査をすれば、それに合わせてプレゼンテーションを調整できます。コーポレートベンチャーキャピタルファンドに対しては、医薬品の科学的側面に適合した製品開発ロードマップを提示し、その製品が彼らのポートフォリオにどう組み入れられるかを示すことです。投資家は自分たちを単なる銀行ではなく、むしろメンターやパートナーとみなしてほしいと考えていることを知っておいてください。製品の価値提案に磨きをかけ、魅力的な対象患者を特定し、販売の可能性を評価するために、事業の戦略的ガイダンスと分析面での支援を提供できる投資家もいます。彼らは投資先の他の新興企業で得た開発の経験を伝えることで、事業計画の調査を支援することができます。また、多様な TA や技術的な専門知識を有する企業、学術界、KOL の臨床医ネットワークと新興企業をつなげることも可能とします。

現在は市場に熱気がありますが、やがて冷え込む時がくるでしょう。会社の浮き沈みの時期に、資金提供してくれる投資家を募る際は、チームに加わる投資家を慎重に検討してください。ある回答者の一人は「一般に、優れたチームはオープンで、透明性があり、ポジティブなエネルギーにあふれ、高い学習能力があります。このようなチームとは何年も共に働き、家族のような関係を築いていけることが多い」と述べています。

# 5

## 出口戦略の開示(ただし柔軟性を持たせる)

投資家は、重要な価値の転換点の予測時期を含め、御社の出口戦略を理解したいと望みます。明確な出口戦略には、開発と商業化の計画と準備が重要です。各企業にはそれぞれ異なる目標があります。単一の新薬候補しかない企業は、開発後期の前の買収を目指しますし、プラットフォーム企業の中には IPO を目指すこともあります。また、臨床試験開始前に買収され、経営陣が次の事業に移ることを望む企業もあります。

投資家への配慮：次の価値の変曲点に到達するために、どれだけの資金と期間が必要なのかを、投資家が検討しやすいようにします。投資ラウンドがまだシードの段階であったり、シリーズ A であれば、この段階でお客様の最終目標が M&A なのか IPO なのかを明示する必要はありません。しかし、それより後の資金調達ラウンドでは、これらの計画について話し合う必要があるかもしれません。戦略を率直に説明できれば、投資家は自分たちがお客様に適しているかどうかを判断することができます。同時に、投資家とのミーティングにおいては、出口戦略に関する考えは柔軟に対応しましょう。出口戦略の計画や考え方を提示しても、他の選択肢を検討し、適応する意思があることを示しましょう。

ある回答者は「可能な限り価値の変曲点については、『この変曲点に至るにはこれだけの資金が必要で、これがその時点で得られるデータです』といったような示し方が望ましい。これらの明確化が非常に重要です」と語っていました。

「現在は市場に熱気がありますが、やがて冷え込む時がくるでしょう。会社の浮き沈みの時期に、資金提供してくれる投資家を募る際は、チームに加わる投資家を慎重に検討してください」



# 培われた専門性

早期臨床戦略を指導し、  
お客様を成功へと導きます。

アンメットニーズに対応するための革新的な科学の進化は、多くの場合、新しい治療法の開発を推進するための初期投資の確保にかかっています。Parexel Biotech および Health Advances は、完全に統合され、適応したコンサルティングと臨床開発サービスを通じて、的確な専門知識とリソースを適切なタイミングで提供することで、お客様の戦略と開発の推進を支援します。「必要としている患者さんに研究室からイノベーションを届ける」という最も重要な目的を達成するため、私たちは臨床開発過程におけるあらゆる意思決定、タッチポイント、マイルストーンをお客様と共に一歩ずつ歩んでいきます。

バイオテックの歩みを決して止めないために、柔軟性と適応性を手に入れましょう。 >

## 調査について

本レポートでは、独立系調査会社である Industry Standard Research 社が、完全統合型の製薬企業およびベンチャーキャピタル会社を代表する 50 人以上の上級投資専門家に対して調査を実施しました。当該インタビューには、オンラインでの定量的アンケートおよび定性面談が含まれます。

*With Heart*<sup>TM</sup>