



# バイオテクノロジーR&Dの効率化

人口知能(AI)、次世代DNAシーケンシング、CRISPR遺伝子編集の組み合わせにより、開発スケジュールの短縮、失敗確率の低下、疾患の治療法を見つけるための研究開発(R&D)に対する投資リターンの上昇など、医薬品開発の効率が劇的に高まる可能性があります。

ARKの研究によると、AI、NGS、CRISPR遺伝子編集といった技術の融合により、バイオテクノロジーや医薬品業界の株式時価総額が数兆米ドル増加するとともに、医療システムの効率性が高まる可能性があります。





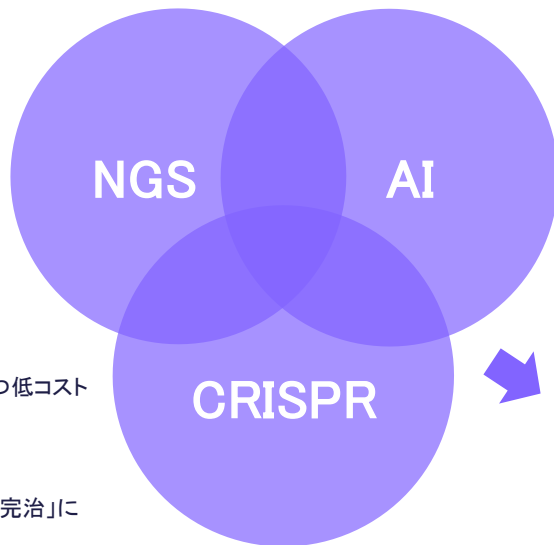
# 3つの技術の進歩により、 医薬品開発の効率が劇的に高まる可能性

## 次世代シーケンシング (NGS)

- 高い正確性を有しながらシーケンスの速度を速め、低コスト化を実現
- 分子標的治療を可能に
- 臨床試験をより効果的にする患者の選択が可能に

## CRISPRによる遺伝子編集

- より多くの機能をもちながら、より迅速かつ低コストの編集が可能に
- より早い段階での試験を可能に
- 慢性疾患を「症状への対処」から「疾患の完治」にシフトさせる



## 人工知能

- 新薬候補の発見を加速
- 臨床試験への参加増を促進
- シーケンシングおよび分析のコスト削減を促進

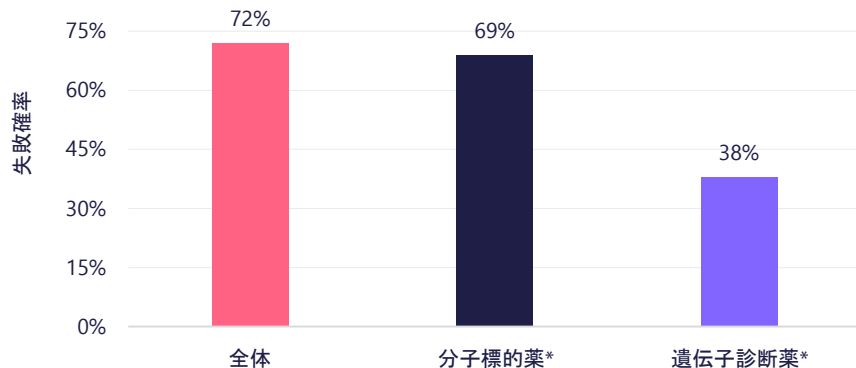
慢性疾患の治癒  
新薬開発の失敗が減少  
開発期間の短縮化



# 次世代DNAシーケンシング(NGS)は臨床試験の成功確率に大きく影響

医薬品開発企業は、新薬候補に反応を示す可能性が高い患者をNGSを用いて見つけ、参加してもらうことで、臨床試験の効率を高めています。現在では臨床試験の半数、そしてがんの臨床試験の80%において、遺伝子情報が集められています。ARKでは、遺伝子診断を用いる臨床試験は、新薬開発の失敗を減らし、資本効率を高めると考えます。

遺伝子診断によって肺がん臨床試験のフェーズ3での  
失敗確率が45%低下する可能性



失敗確率の低下を加味した  
FDA承認薬1件当たりの創薬コスト

失敗確率低下幅 (%)	失敗した新薬候補数 (件)	合計R&Dコスト <sup>1</sup> (百万米ドル)
0	28	\$720
10	18	\$520
25	9	\$350
45	3	\$220

人工知能と組み合わせて次世代シーケンシングによる診断を行なうことにより、新薬開発プロセスのあらゆる段階において臨床試験の失敗確率が大幅に低下するとみられます。

[1] 資本コストを10%と想定しています。

\* 失敗確率の低下は、臨床試験の成功確率の向上を意味します。分子標的薬は、通常、遺伝子に働き掛ける作用機序を持ち、患者に合わせてテーラーメイドされます。

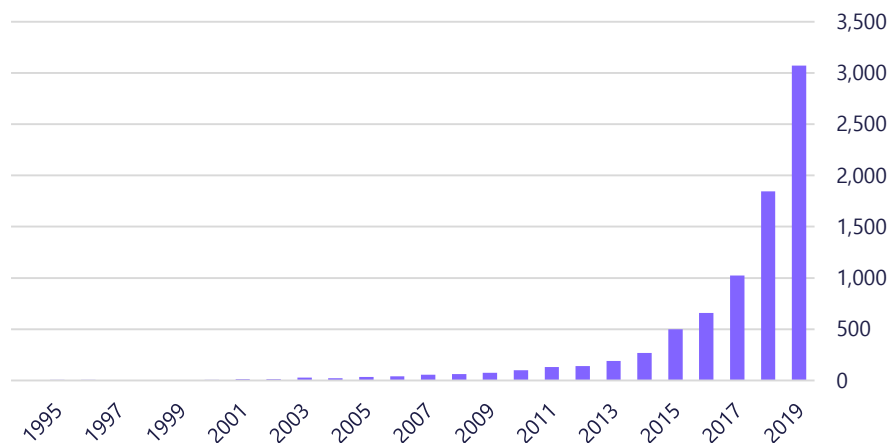
出所: ARK Investment Management LLC, 2019 | Falconi, Adam, et al. "Biomarkers and Receptor Targeted Therapies Reduce Clinical Trial Risk in Non-Small-Cell Lung Cancer." Journal of Thoracic Oncology, Elsevier, 20 Nov. 2015, <https://arkinv.st/35AnSA2>



# 人工知能(AI)は新療法の市場投入までの時間を短縮する見通し

主要疾患への取り組みや医療エコシステム全体の効率性向上を目的としたAIの活用が増加しつつあります。AIによって、より効率的に患者の募集や維持を行なうことで臨床試験の処理能力が高まる見込みであり、試験期間が半分以下に短縮する可能性があります。

主要疾患に特化した  
機械学習およびディープラーニング関連論文の発行数<sup>1</sup>



新薬1件の開発成功に要するコスト

市場投入までの時間の短縮幅 (%)	合計R&Dコスト <sup>2</sup> (百万米ドル)
0	\$720
10	\$675
25	\$610
45	\$535

AI、DNAシーケンシング、遺伝子編集を組み合わせることにより、臨床試験のスピードが向上し、資本コスト調整後R&Dコストが低下するとみられます。

[1] 「機械学習」または「ディープラーニング」に言及した学術論文で、そのタイトルまたは要旨で米国国内致死率上位5位の疾患の1つに言及しているもの。

[2] 資本コストを10%と想定しています。

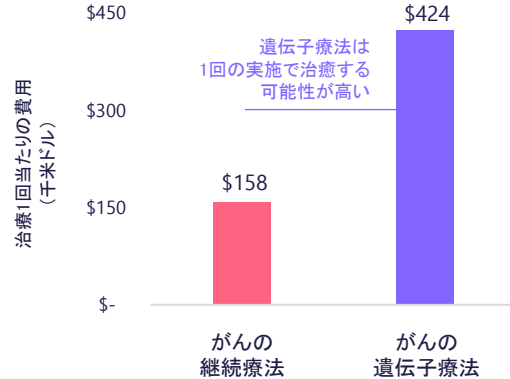
出所: ARK Investment Management LLC, 2019 | “Home - PubMed - NCBI” National Center for Biotechnology Information, U.S. National Library of Medicine, <https://arkinv.st/2ZZk9L4>



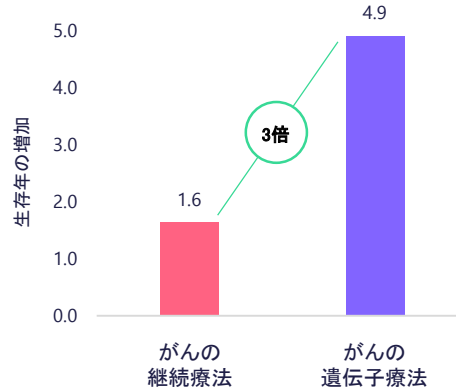
# 疾患を完治させる治療法はより高額ながら、費用対効果ははるかに高い

遺伝子編集は、遺伝子療法や細胞療法を開発し実用化する能力を一変させると考えられています。今のところ、FDAに承認されている療法は10件(そのうち3件は腫瘍を標的としたもの)にとどまりますが、臨床試験の登録数は2,000件を超えています。過去2年間でFDAに承認された最初の3件の遺伝子治療薬は、液体腫瘍の完全寛解率が高く、「生存年」当たりのコストが低いことを実証しています。<sup>1</sup>

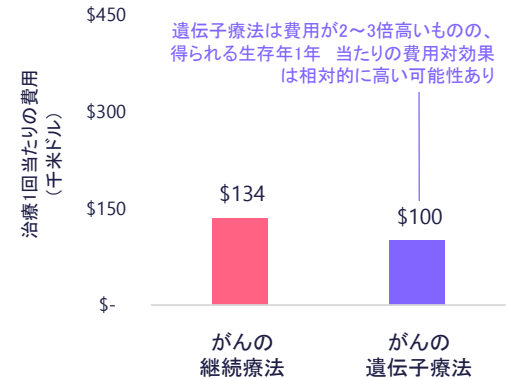
### がんの継続療法<sup>2</sup>と遺伝子療法の平均費用の比較



### 治療法による平均生存年



### 得られる生存年1年当たりの平均がん治療費用



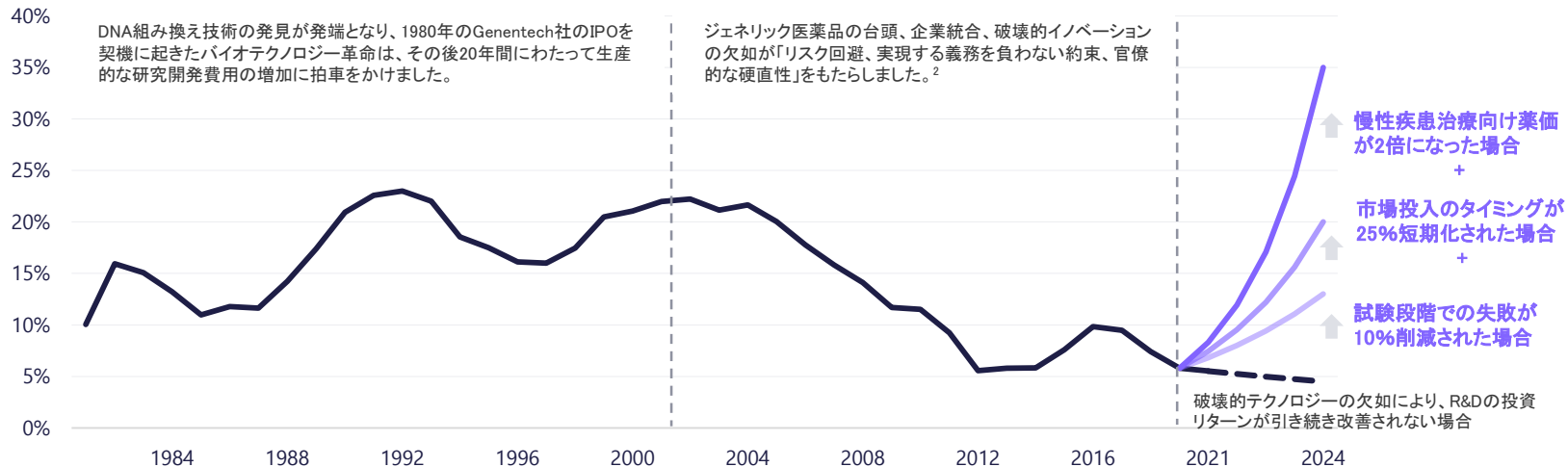
[1] 生存年: 治療を受けながら生存する年数 | [2] がんの継続療法には、2014~2019年に承認された治療法を含みます。  
出所: ARK Investment Management LLC, 2019 | Biologics Evaluation and Research. "Approved Cellular and Gene Therapy Products." U.S. Food and Drug Administration, FDA, <https://arkinv.st/37LrKQh> | Sharyari, Alireza, et al. "Development and Clinical Translation of Approved Gene Therapy Products for Genetic Disorders." Frontiers, Frontiers, 20 Aug. 2019, <https://arkinv.st/39MZ0xg>



# シーケンシング、編集およびAIを組み合わせることにより 治療薬研究開発の投資リターンを劇的に改善させる可能性

臨床試験の成功確率の小幅な上昇に加えて、試験の処理能力向上、治癒をもたらす治療法に可能な高額薬価設定により、R&D費用の投資リターンはバイオテクノロジー革命以来の高水準へと上昇する可能性があります。

## 医薬品およびバイオテクノロジー企業：医薬品R&D費用<sup>1</sup>の投資リターンと今後の予想 (5年移動平均)



[1] 医薬品R&D費用の投資リターン：医薬品が販売されるまでの年間で費やされたR&D費用（医薬品開発の失敗も含む）に対する収益率から無リスク金利を差し引いたもので、特定の年における利益の現在価値を表す。

[2] Garnier, J-P. 2008. Rebuilding the R&D Engine in Big Pharma. Harvard Business Review May 2008.

上記の予測は、限定的なものであり、その信頼性を保証するものではありません。

出所：ARK Investment Management LLC, 2019 | Garnier, Jean-Pierre. "Rebuilding the R&D Engine in Big Pharma." Harvard Business Review, 1 Aug. 2014, <https://arkinv.st/37JCLJP>

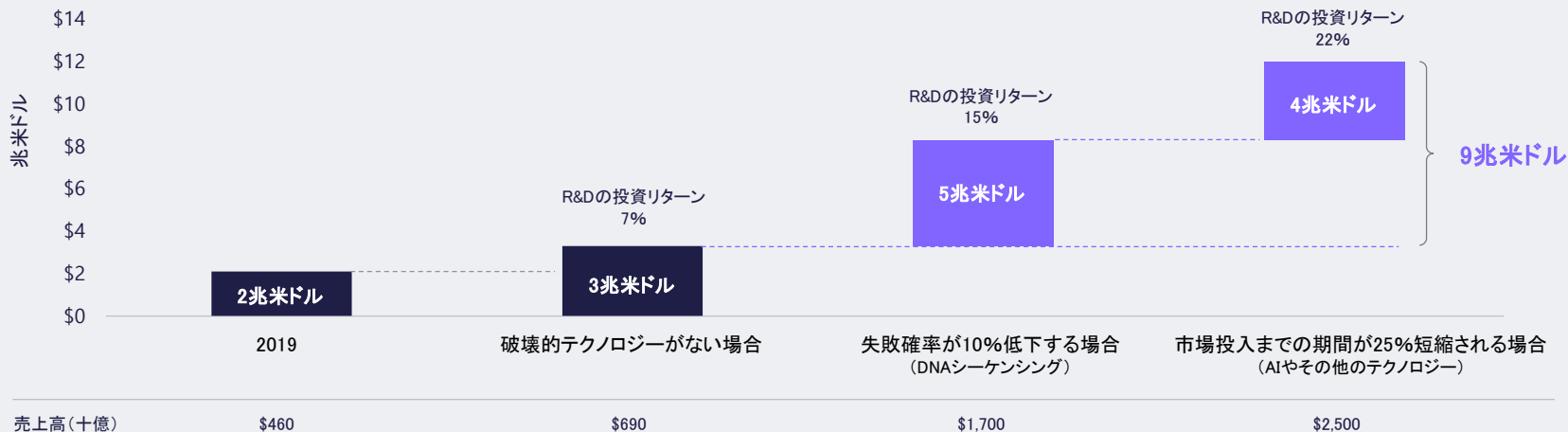


# 投資機会の規模



研究開発の効率向上により、向こう5年で医薬品開発企業の株式時価総額は **9兆米ドル増加** する可能性があります。

### 2024年時点の医薬品開発企業の株式時価総額予測\*

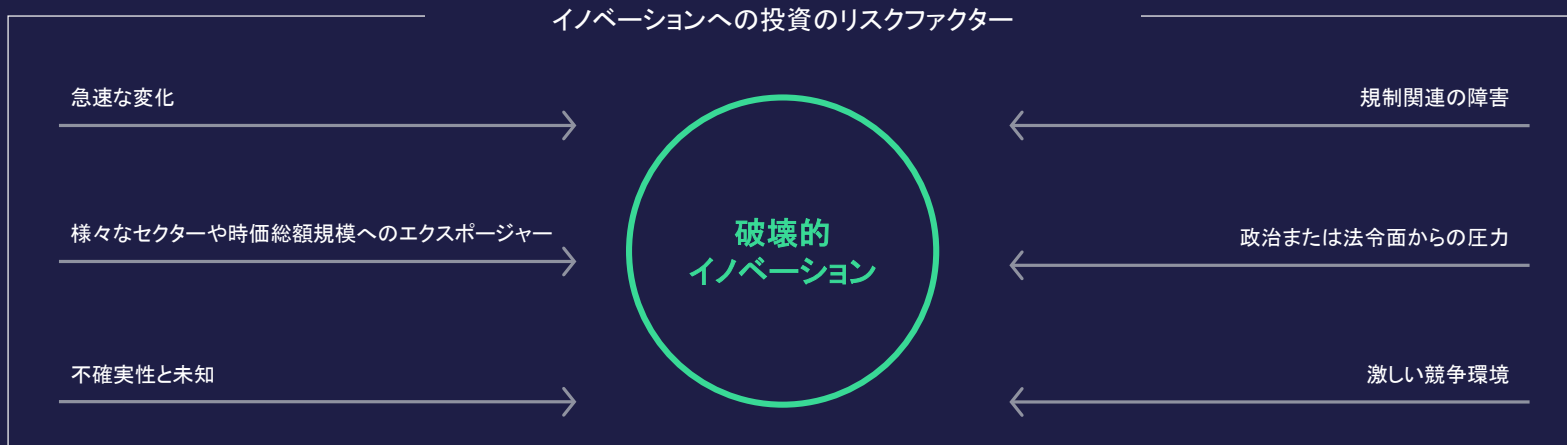


\* 株式時価総額予測は、バイオテクノロジーセクターの株価売上高倍率を不変と想定し、特許権および専有権の期限切れにより見込まれる売上高減少を考慮した上で関連するR&D費用によって生み出されると予想される売上増加額に基づく。R&D費用とそれに関連して生み出される売上高の過去データの広範な分析および復元結果に基づく。上記の予測は、限定的なものであり、その信頼性を保証するものではありません。  
出所: ARK Investment Management LLC, 2019 | Garnier, Jean-Pierre. "Rebuilding the R&D Engine in Big Pharma." Harvard Business Review, 1 Aug. 2014, <https://arkinv.st/37JClp>



# ディスクロージャー 破壊的イノベーションへの投資のリスク

当該企業が破壊的イノベーションを活用しながら既存の技術に代わるテクノロジーを開発し、新しい市場を創出しているとARKが評価をしていても、それらが事実と異なる場合があります。ARKは、投資家の皆様に破壊的イノベーションに関する情報を紹介するとともに、その潜在的な投資機会の規模を提示することをめざしていますが、リスクおよび不確実性がARKの予測やリサーチモデルに影響を及ぼす可能性がある点にご注意ください。投資家の皆様は、当資料の内容をあくまでも参考情報として扱い、また市場リスク、破壊的イノベーション・リスク、規制リスク、特定のイノベーション分野に関連するリスクにも注意する必要があります。リスクに関するディスクロージャーを入念にお読みください。



→ トップダウンおよびボトムアップのリサーチを組み合わせ、テクノロジーについてのセクター横断的な理解をめざす

→ 規制、市場、セクターおよび個別企業リスクの理解をめざす（最終ページの「ディスクロージャー」をご参照ください。）





# ディスクロージャー



BIG IDEAS 2020

破壊的イノベーションに関するより詳細なリサーチは[ark-invest.com/research](https://ark-invest.com/research)をご覧ください。

©2020, ARK Investment Management LLC. No part of this material may be reproduced in any form, or referred to in any other publication, without the express written permission of ARK Investment Management LLC (“ARK”).

破壊的イノベーションを活用し、従来のテクノロジーに取って代わる技術、または今後新しい市場を創出し得る技術を開発しているとARKが考えている企業は、競合他社、業界団体、または地方政府および中央政府からの政治的または法的攻撃を受ける可能性があることをご承知おきください。

ARKは各種のリスクと不確実性が当社の予測と研究モデルに影響を与える可能性があることは承知の上で、投資家を教育し、破壊的イノベーションの潜在的な可能性を拡張することを目指しております。投資家は、市場リスク、破壊的イノベーションリスク、規制リスク、並びに、ディープラーニング、デジタルウォレット、バッテリーテクノロジー、自動運転技術、ドローン、DNAシーケンス、CRISPR、ロボット工学、3Dプリンティング、ビットコイン、ブロックチェーンテクノロジー等に関連する各種のリスクに留意の上、情報提供のみを目的として掲載された当該コンテンツを使用してください。

当資料は情報提供を目的として作成した資料であり、予告なく変更されることがあります。当資料は明示的にも黙示的にもARKによるサービスや商品の勧誘資料ではないため、投資者の皆様は、特定のサービスがご自身のニーズに適しているか等について、弁護士、その他投資専門家に相談されることを推奨します。当資料内の企業および証券についてのすべての記載内容は、ARKの見解に基づくものであり、ARKによる個別企業・サービスの推奨、またはARKによる証券の売買または保有の推奨ではありません。記載されている過去の実績は将来の運用成果等を約束するものではありません。当資料には、将来の業績に関する記述やその他将来に関する記述が含まれている場合がありますが、これらの記述は当資料作成時点のARKの見解や過程に基づいたものであり、既知または未知のリスクや不確実性が含まれています。従って、実際の業績、事象などは記載されているものと大きく異なる可能性があります。ARKが米国証券取引委員会に提出する届出書には、当資料に掲載されている以外のリスクや不確実性が必要に応じて含まれている場合があります。ARKは当資料に含まれる将来に関する情報を更新する義務を負いません。当資料の情報はARKが信頼できると判断した情報に基づき作成されていますが、第三者から入手した情報の正確性・完全性を保証するものではありません。ARKおよびその顧客並びに関係者は、記載された証券または発行体に対して金銭的利益関係を有している場合があります。

**ARK Investment Management LLC**

3 E 28th Street, 7th Floor, New York, NY 10016

[ark@ark-invest.com](mailto:ark@ark-invest.com)

- 当資料は、日興アセットマネジメントが「ARKのBIG IDEAS 2020」についてお伝えすることなどを目的として作成した資料であり、特定ファンドの勧誘資料ではありません。また、当資料に掲載する内容は、弊社ファンドの運用に何等影響を与えるものではありません。
- 投資信託は、値動きのある資産(外貨建資産は為替変動リスクもあります。)を投資対象としているため、基準価額は変動します。したがって、元金を割り込むことがあります。投資信託の申込み・保有・換金時には、費用をご負担いただく場合があります。詳しくは、投資信託説明書(交付目論見書)をご覧ください。
- 個別銘柄について言及していますが、当該銘柄の売買や保有を推奨するものではなく、当社ファンドにおける現時点での保有の有無、ならびに将来の組入れもしくは売却を示唆するものでもありません。