

新薬創出・適応外薬解消等促進加算について －補足説明－

**中央社会保険医療協議会
薬価専門部会**

2011年11月16日

**専門委員 榎宜寛治
 加茂谷佳明**

薬価制度改革の必要性 ～国民が最終的な受益者～

新薬創出等加算導入検討時(2年前)の考え方

新薬創出等加算の導入により、以下のような成果が期待できる。

- 喫緊の課題である未承認薬・適応外薬問題の早期解決
- 革新的新薬の創出とドラッグ・ラグの解消

新薬創出等加算試行的導入後の現在の姿

- 国が開発を募集した未承認薬について開発意思を示す企業が現れ、企業に要請された適応外薬等については各企業が開発着手あるいは公知申請を進めるなど適切な対応を図っている。
- 製薬産業は日本の経済成長の牽引役として期待されており、日本オリジンの革新的新薬創出やドラッグ・ラグ解消の実現に向けた取り組みが進められている。

適応外薬等への対応など試行的導入による成果が得られている中、ドラッグ・ラグ解消に向けた取り組みを加速させ、革新的新薬の創出をさらに促進させるためには、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」を本格導入・恒久化すべきである。

○未承認薬・適応外薬解消に向けた取組状況について

- ・適応外薬等の開発要請が各企業に与えた影響**

○ドラッグ・ラグ解消に向けた取組状況について

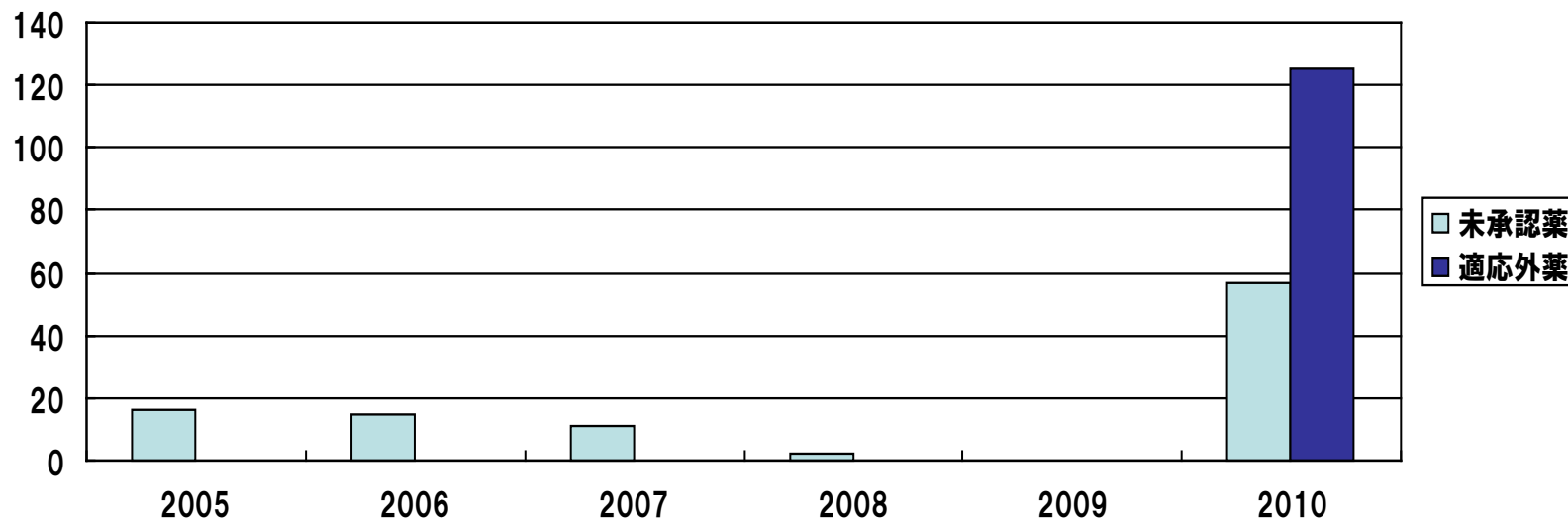
○新薬創出に関する取組状況について

- ・アンメット・メディカル・ニーズに対する
医薬品の開発・承認状況**

未承認薬・適応外薬解消に向けた業界としての取り組み

- 新薬創出等加算の試行的導入以降、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における検討を経て開発や公知申請が進められているものは186件であり、適応外薬等の問題は着実に解消へと向かっている。
- 特に、企業の受け皿のない未承認薬についても、製薬協が設立した「未承認薬等開発支援センター」の支援等により、公募された19件については全て、企業より開発意思の申し出があるなど、業界全体として取り組んでいる。

未承認薬・適応外薬の対象品目数



2005年1月～2009年10月

2010年2月～2011年3月

「未承認薬使用問題検討会議」検討分

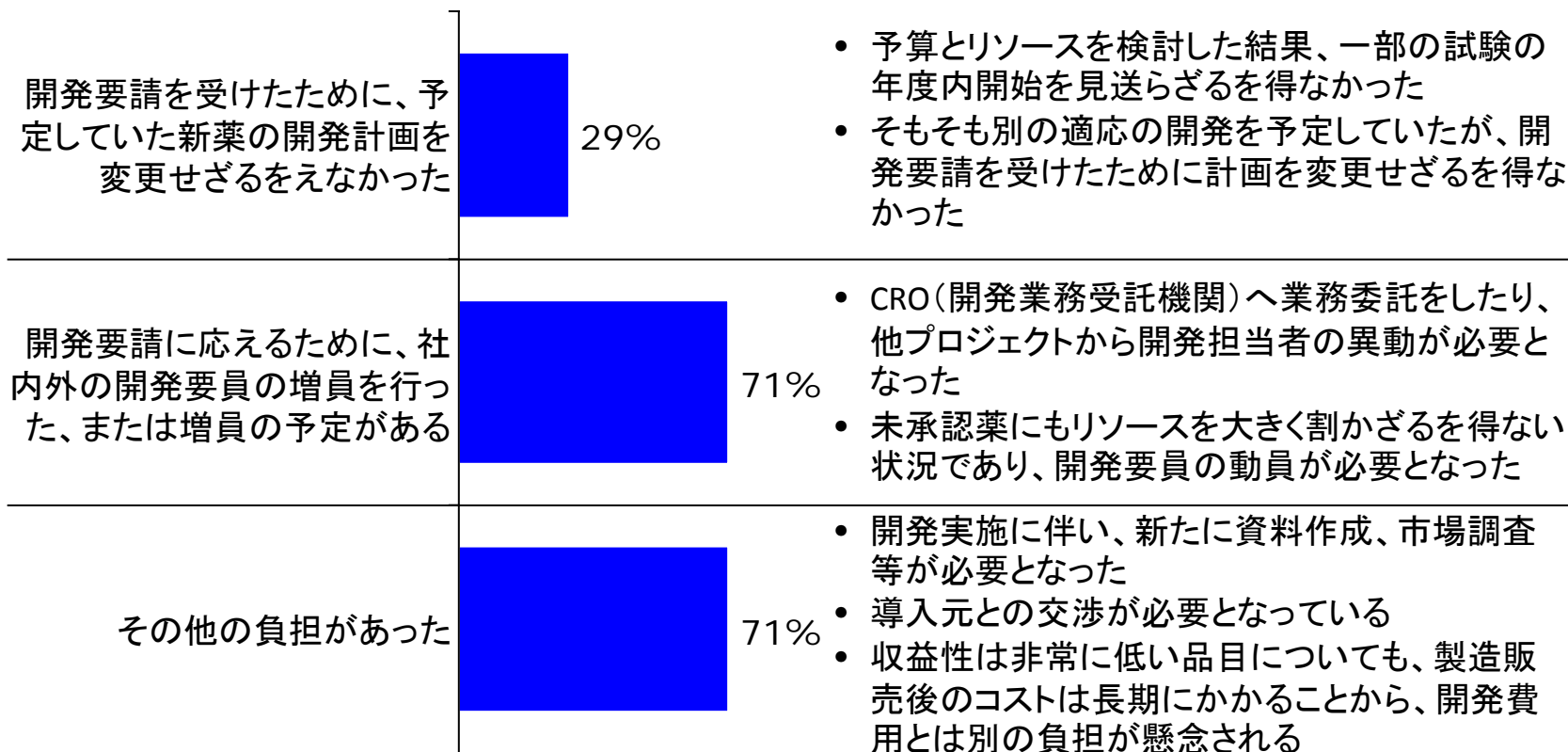
「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」検討分

開発費以外で開発要請が各企業に与えた影響

(調査対象15社のうち回答を得た14社で集計)

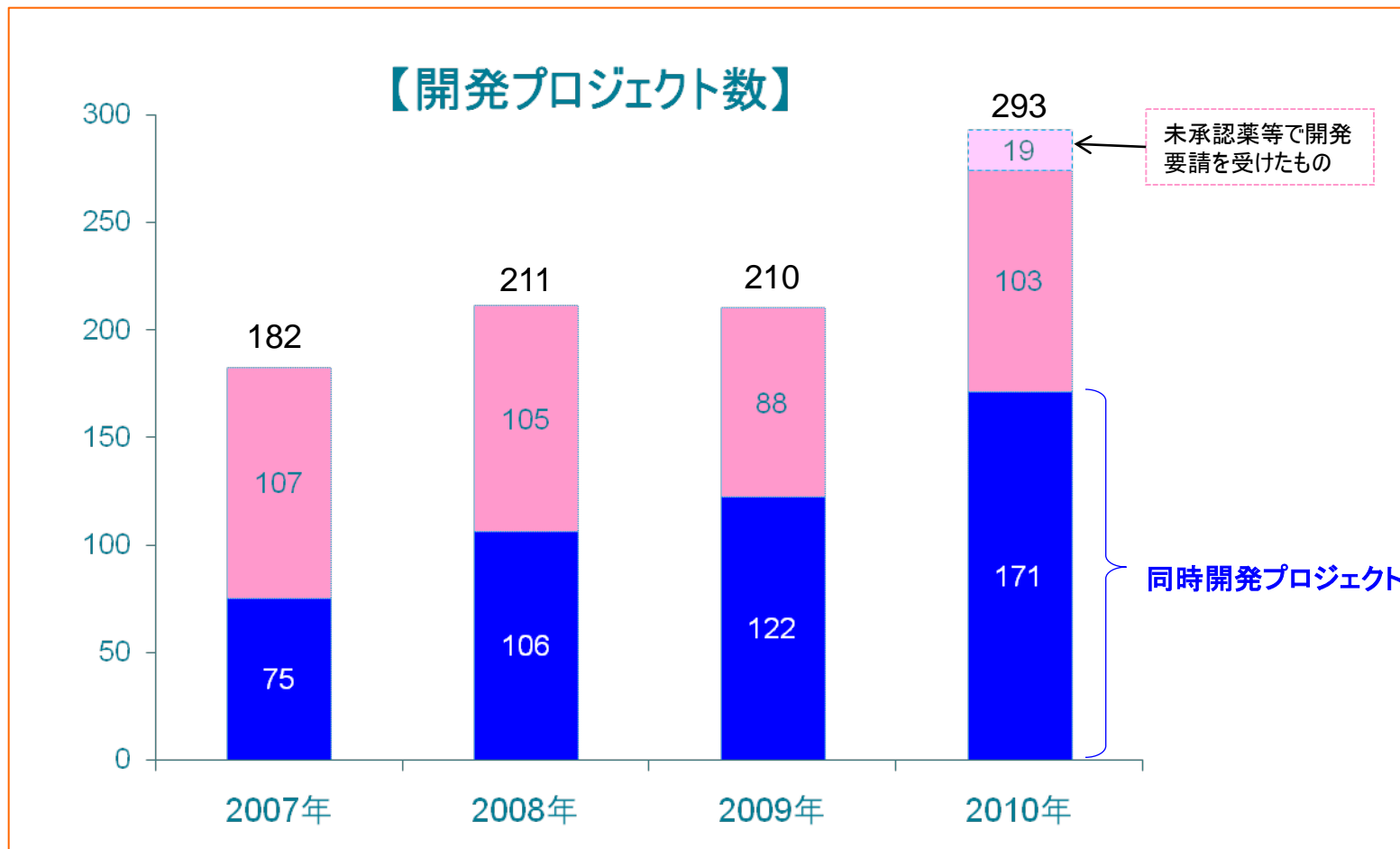
影響を受けたとする企業の割合 (%)

主な影響



開発プロジェクトと同時開発プロジェクト数の著しい増加は、日本での新薬開発の活性化を示唆している

プロジェクト数: 2010年の開発プロジェクト数は293件と、前年に比べ83件(+40%)増加。
(未承認薬・適応外薬で要請を受けて開発着手したもの(19件)を除外すると64件(+30%)の増加)
世界同時開発プロジェクト数: 同時開発プロジェクトも2010年は前年に比べ49件(+40%)増加。

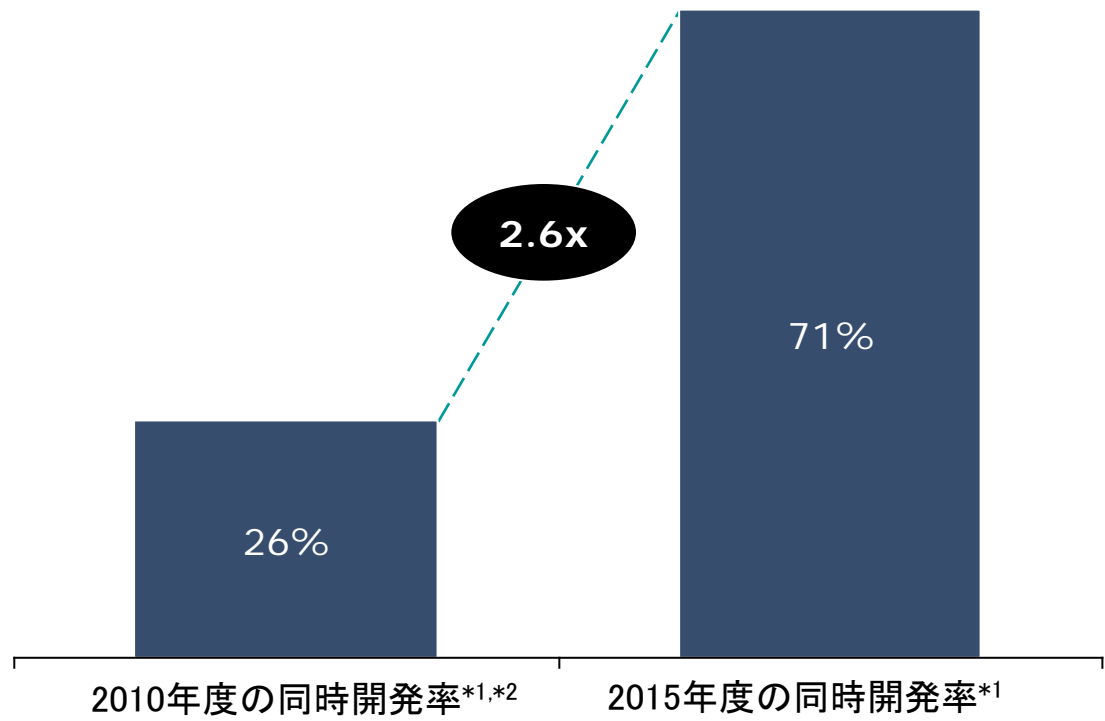


(EFPIA Japan 15社への調査結果)

象徴的な変化として、グローバル同時開発の割合は大きく伸び、ドラッグラゲの大幅な解消をもたらすことが見込まれる

国内開発品目数に対する同時開発品目数割合の変化

(調査対象15社のうち回答を得た13社で集計)



*1 2010年度の同時開発率は、13社における、「同時開発品数/グローバル開発品」を、2015年度の同時開発率は、同13社における、「2015年度の想定同時開発率を2010年度のグローバル開発品数で加重平均した値」を用いた
*2 同時開発に加え、日本で先行しているものも含む

最近の新薬の開発状況(2)

○薬剤貢献度の低い疾患における開発品目数は、肝がん、胃がん、アルツハイマー病、多発性硬化症、糖尿病性網膜症等で増加がみられる。

薬剤貢献度50%未満の疾患における開発品目数推移

疾患名	薬剤 貢献度	開発品目数		増減
		2011年	2006年	
睡眠時無呼吸症候群	18.3%	1	0	1
血管性認知症	18.9%	0	0	0
アルツハイマー病	22.6%	9	5	4
加齢黄班変性	27.6%	3	2	1
糖尿病性網膜症	29.8%	3	1	2
糖尿病性神経障害	31.4%	2	3	△ 1
多発性硬化症	37.9%	4	0	4
糖尿病性腎症	40.0%	1	3	△ 2
脳出血(含む膜下出血)	41.3%	1	1	0
腹圧性尿失禁	41.8%	0	1	△ 1
肝癌	42.1%	10	4	6
変形性関節症	42.2%	1	2	△ 1
胃癌	49.5%	10	5	5
合計		45	27	18

注1: 経年比較を行うため、薬剤貢献度が50%未満の20疾患のうち、対象疾患の見直しにより2010年度調査より追加された7疾患を除いた13疾患を対象としている。

注2: 2006年は9月時点、2011年は6月時点の開発品目数を示している。

出所: (財)ヒューマンサイエンス振興財団「平成22年度国内基盤技術調査結果報告書－2020年の医療ニーズの展望－」の調査結果および各社公表資料をもとに作成。

出典: 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュースNo.34 (2011年11月)

最近の新薬の開発状況(3)

○がん疾患の開発品目数は、2006年と比較して、2011年には大幅に増加している。
 ○膵がん、肺がん、肝がん等、薬剤貢献度の低いがんの多くは、治療満足度も低い状況にあり、開発中の薬剤の製品化により、更なる医療の向上が期待される。

癌種別の開発品目数推移

癌腫	治療満足度	薬剤貢献度	開発品目数			2010年(参考)
			2011年	2006年	増加	
肝癌	50.4%	42.1%	10	4	6	5
子宮頸癌	63.5%	49.0%	3	0	3	2
胃癌	77.4%	49.5%	10	5	5	10
肺癌	39.7%	55.5%	21	6	15	15
大腸癌	72.4%	56.4%	6	4	2	5
乳癌	72.5%	68.3%	19	5	14	13
前立腺癌	75.0%	81.6%	10	3	7	6
白血病	68.2%	91.3%	3	2	1	5
合計			82	29	53	61

膵癌	10.7%	20.4%	7
悪性リンパ腫	65.4%	85.6%	10

注1: HS財団2010年度調査より、子宮癌は対象疾患が子宮頸癌へと変更されたが、過去の開発品の適応症が全て子宮頸癌であるため、データをそのまま用いて集計している。

注2: HS財団2010年度調査より対象疾患として追加された膵癌、悪性リンパ腫は、欄外に示している。

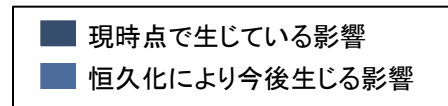
注3: 2006年は9月時点、2011年は6月時点の開発品目数を示している。

出所: (財)ヒューマンサイエンス振興財団「平成22年度国内基盤技術調査結果報告書－2020年の医療ニーズの展望－」の調査結果および各社公表資料をもとに作成。

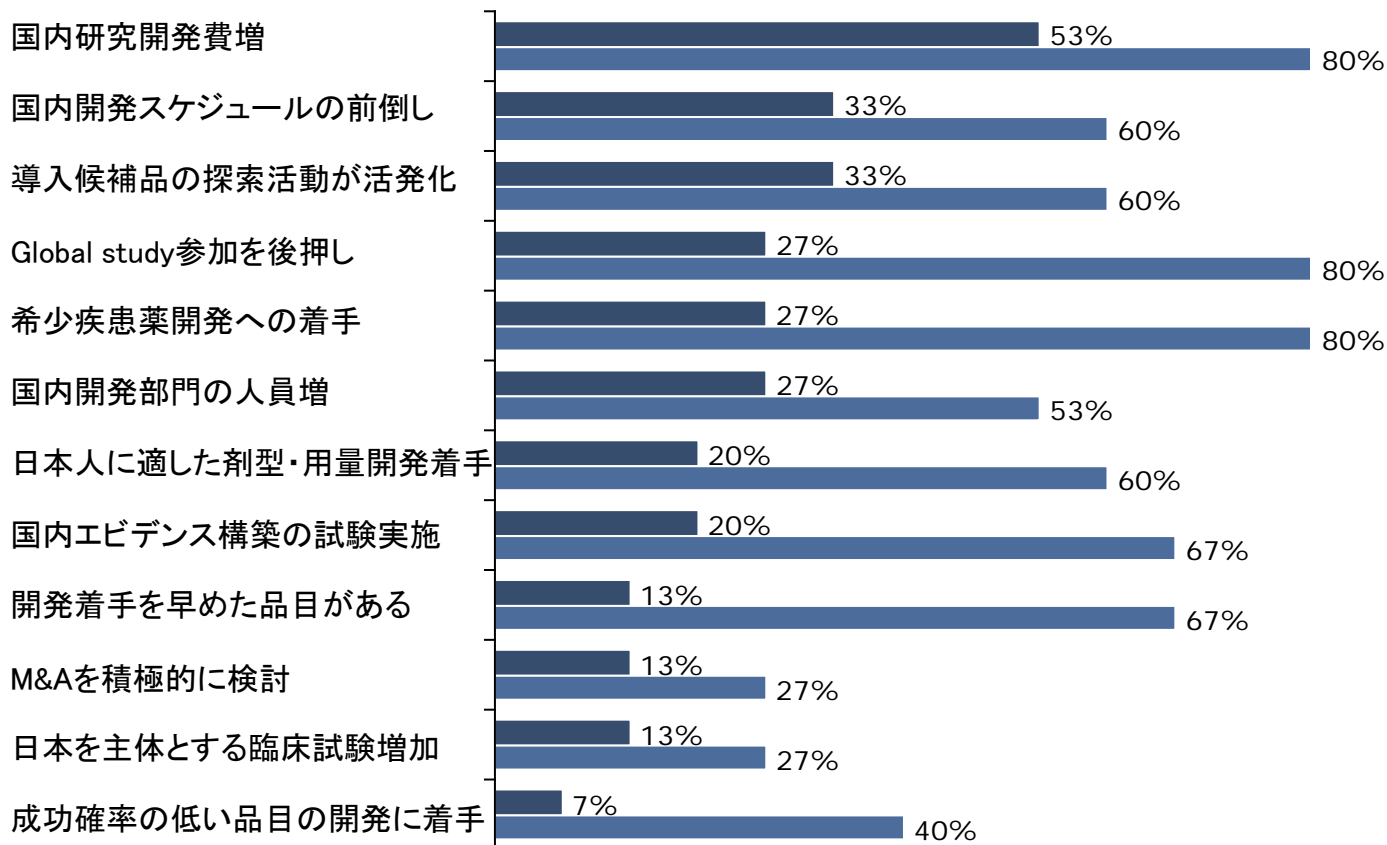
出典: 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュースNo.34 (2011年11月)

製薬企業は、新薬創出等加算制度が恒久化されれば、国内新薬開発は一層活性化すると考えている

新薬創出等加算制度によるポジティブな影響があると回答した企業の割合 (%)



(調査対象15社での集計)



未承認薬・適応外薬の検討状況

- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、医療上の必要性が高いとされたものは186件であり、企業に要請されたものが167件、開発企業を公募したものが19件であった。
- これらについて、開発を要請された企業は公知申請や開発着手などの適切な対応を進めており、公募された19件については全て、開発意思を申し出た企業があった。

検討状況		件数	
企業に開発要請したもの		167	
公知申請が妥当であるもの	未承認薬	0	39
	適応外薬	39	
既に関発に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	30	54
	適応外薬	24	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	15	49
	適応外薬	34	
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について 検討中のもの	未承認薬	0	25
	適応外薬	25	
開発企業を公募したもの		19	
合計		186	

開発企業が募集された未承認薬

医薬品名	対象疾病
コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤型追加 〈適応菌種〉:多剤耐性緑膿菌、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性多剤耐性グラム陰性菌 〈適応症〉:多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症
フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症
プロゲステロン	経膈剤の剤型追加、体外受精・胚移植の際の黄体補充
プロゲステロン	経口剤の剤型追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法の補助
ベタイン	ホモシスチン尿症
アルデスロイキン	悪性黒色腫
メチレンブルー	薬剤性のメトヘモグロビン血症
カルグルミック酸	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症
ニチシノン	チロシン血症Ⅰ型
デクスラゾキサソ	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出
ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療
安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下
メロニダゾール	静注剤の剤型追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢
3,4-ジアミノピリジン	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善
リロナセプト	12歳以上のクリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome, CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症およびMuckle-Wells症候群における炎症症状の軽減
亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善
コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤型追加、肺嚢胞線維症の気道感染症
ナフシリン	ペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症
モルヒネ塩酸塩水和物	中等度から高度の疼痛をともなう各種癌における鎮痛及び難治性慢性疼痛に対する鎮痛における体内植え込型薬剤投与ポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与