

革新的医薬品の創出に向けて

2019年5月20日
日本製薬団体連合会
日本製薬工業協会

平成31年度研究開発税制改正について

- 総論として、総額型の時限措置の2年の延長、オープンイノベーション（OI）型の拡充等、製薬業界の要望が反映された改正と評価している。
- 高水準型が、簡素化の観点から総額型の上乗せ措置に統合となる中、試験研究費割合が10%以上の企業に対して、控除率の追加という形でインセンティブが継続されたことは高水準の研究開発投資を行っている企業の支援につながると考える。
- OI型については、民間大企業への委託研究が、一定の要件のもとではあるものの対象に追加されたこと及び控除上限が5%から10%に倍増したことから、より積極的に活用していきたい。なお、手続等に関してはガイドラインにおいて明確にして頂きたい。

アジア諸国との規制調和の実現

- **アジア諸国では高齢化や疾病構造の変化に伴い、優れた医薬品に対するニーズが高まると同時に、規制当局間の国際協力に関する意識も醸成されつつある。**
- **今般、自民党で了承された「アジア医薬品・医療機器規制調和推進に向けた提言」において、アジア域内の規制当局担当者の人材育成と治験実施体制の強化を通して、科学的な知見に基づく規制を推進し、域内に垣根のない医薬品・医療機器等のマーケットを整備する方向性が示された。**
- **提言の趣旨に則り、今後もアジアの製薬団体、政府機関、規制当局等と協力・連携することで、日本で承認された革新的医薬品が速やかにアジア各国で受け入れられる体制の構築を目指す。**

薬価制度改革等の影響

薬価制度の抜本改革などの諸施策により製薬産業は大きなダメージを受けている。今後も、製薬企業が積極的に研究開発投資を行い、継続的にイノベーションを創出し、優れた医薬品を生み出すためには、イノベーションを適正に評価できる仕組みへの改善が急務。

薬価制度の抜本改革（2018.4）

薬価引き下げに偏った改革であり、次期薬価制度改革での見直し・改善が不可欠
（新薬創出等加算の改善、薬価収載後の評価の充実）

消費税率引き上げに伴う薬価改定（2019.10）

通常改定よりも半年前倒しの薬価引き下げであり、製薬企業に与える影響は大きい

費用対効果評価の制度化（2019.4）

以下の点において、医薬品の研究開発・安定供給を継続していくうえで厳しい内容
加算の最大90%引き下げ、原価品目は加算なしでも対象、社会的要素が反映されない仕組み

製薬協 政策提言2019の全体像

テクノロジー新時代のイノベーション
創出に向けた環境整備

イノベーションの推進と国民皆保険の
持続性の両立を求めて

① 予防・先制医療ソリューション
の早期実用化

② 健康医療ビッグデータ
及び AIの開発・活用

③ ヘルスケアイノベーション
創出エコシステムの構築

研究
開発

新薬
創出

価値
創造

継続
投資

保険制度における負担と給付
の見直し

保険制度におけるイノベーション
(モノ) の適正評価

- ① 医薬品の多面的評価の
必要性
- ② イノベーションの評価と
保険財政の調和

現
状

- ・ データヘルス時代の到来
- ・ 医薬・医療イノベーション創出国としての
相対的な地位の低下
- ・ 健康寿命と平均寿命のギャップ

- ・ イノベーションの成果である医薬品が社会的なコストと捉
えられている
- ・ 医薬品の多様な価値が薬価に反映される制度が必要
- ・ 現行制度では、医薬品の価値が適切に反映されているか
国民にとってわかりにくい

製薬協 政策提言2019の全体像

テクノロジー新時代のイノベーション
創出に向けた環境整備

イノベーションの推進と国民皆保険の
持続性の両立を求めて

① 予防・先制医療ソリューション
の早期実用化

② 健康医療ビッグデータ
及び AIの開発・活用

③ ヘルスケアイノベーション
創出エコシステムの構築

研究
開発

新薬
創出

価値
創造

継続
投資

保険制度における負担と給付
の見直し

保険制度におけるイノベーション
(モノ) の適正評価

- ① 医薬品の多面的評価の
必要性
- ② イノベーションの評価と
保険財政の調和

現
状

- ・ データヘルス時代の到来
- ・ 医薬・医療イノベーション創出国としての
相対的な地位の低下
- ・ 健康寿命と平均寿命のギャップ

- ・ イノベーションの成果である医薬品が社会的なコストと捉
えられている
- ・ 医薬品の多様な価値が薬価に反映される制度が必要
- ・ 現行制度では、医薬品の価値が適切に反映されているか
国民にとってわかりにくい

1-1. 予防・先制医療の実現に向けた取り組み

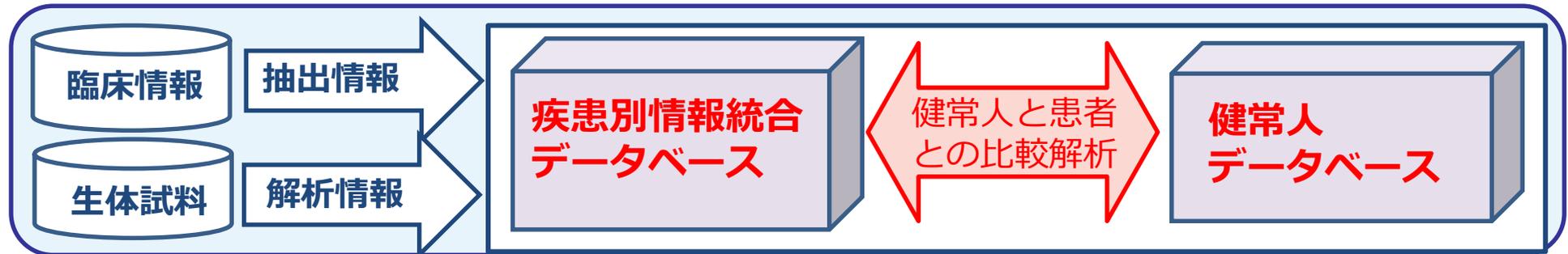
①前向きコホート研究の推進

- 東北メディカル・メガバンクの前向きゲノムコホート研究データの基盤整備・拡充と利活用推進
- 認知症の予防・先制医療実現に向けたコホート研究の推進

②疾患別情報統合データベースの構築と利活用促進

- 国立高度専門医療研究センターが保有する臨床検体及びその患者から新たに採取する検体を用いたゲノム・オミックス解析の実施
- 上記解析データと臨床情報を連結したデータベースの構築

イメージ図



産学官連携によるコホート研究の推進

政府
・研究助成
・拠点整備

アカデミア
・医学研究
・人材育成

製薬企業
・資金提供
・人材派遣

1-2. 創薬基盤技術の高度化に向けた取り組み

- 日本が高度化すべき企業ニーズを踏まえた**創薬基盤技術等に関する戦略を立案する産学官ハイレベル対話**の場の設置
- 創薬における実装に向け、効果的な**産業界とAMEDの資金マッチング**の実現
 - より一層の多様化が想定される**新規モダリティの共有・開発**
 - 創薬研究の鍵となるたんぱく質の構造解析の新技术である**クライオ電子顕微鏡による解析技術の高度化**を実施

新規モダリティの 共有・開発

- 各社の独自技術・研究アセットを集約し、AMEDとの連携のもと、アカデミアの創薬シーズの研究に活用。
- 研究されたシーズを企業が実用化

クライオ電子顕微鏡等 最先端設備の共同利用

- アカデミアに人材を送り出すとともに、アカデミアが保有する設備の利用や技術支援に対する費用を負担
- 政府支援によるアカデミアへの新設備の導入、運用について産学官で議論

改変抗体、細胞、核酸、遺伝子、中分子等の新たなモダリティを活用した医薬品を創出

創薬および医学研究に必要な最先端設備を産学で協同活用し、世界最先端の創薬技術を獲得

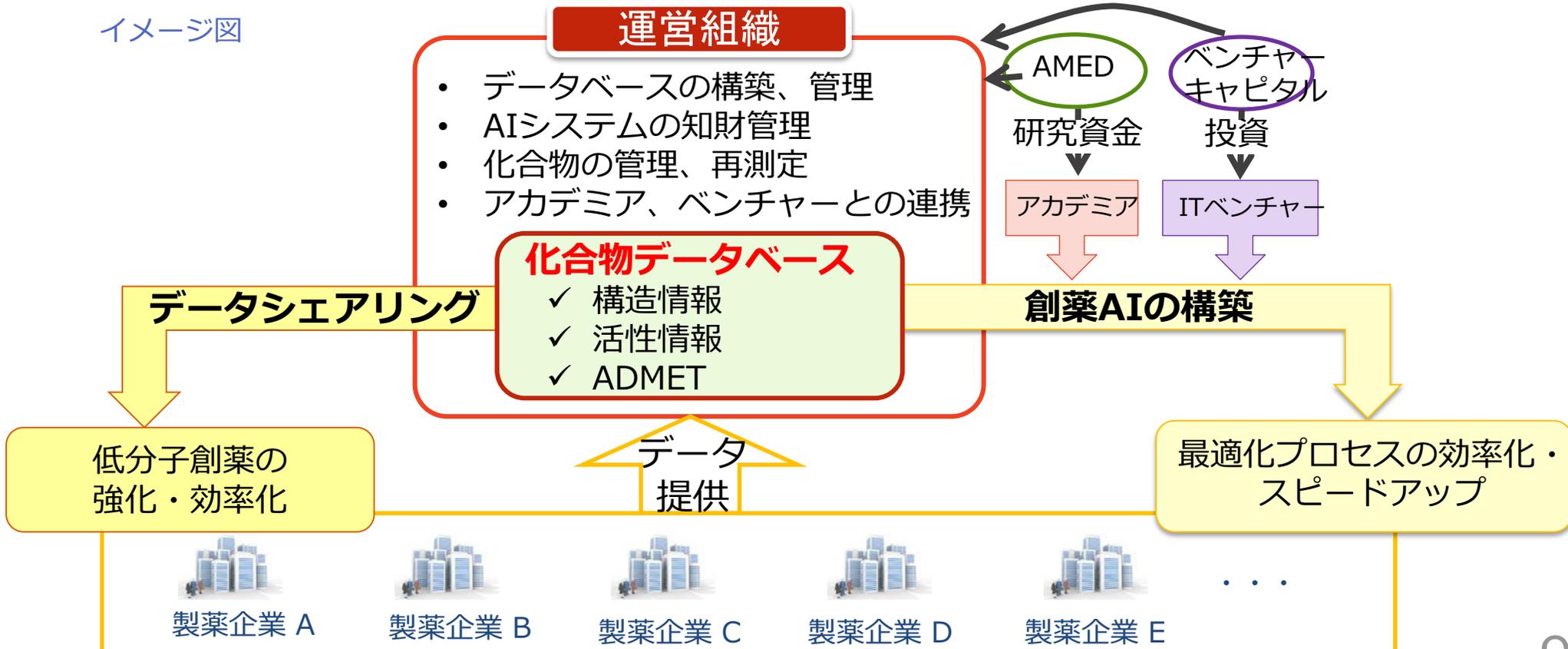
※モダリティ: 治療薬の物質的な種別。低分子化合物やペプチド(中分子)薬、抗体医薬を含むタンパク質医薬、核酸医薬、細胞医薬といった治療手段

※創薬研究の鍵となるたんぱく質の構造解析の新技术。この技術開発者が2017年にノーベル化学賞を受賞した。

1-3. データシェアリングに向けた取り組み

- **創薬研究の効率化・加速化**に向け、製薬企業間(アカデミア等との連携も含む)でデータシェアリングを行うべき分野、領域、枠組み等の議論を開始し、製薬企業間におけるデータシェアリングポリシーを策定
- 持続的な**基盤データベースの構築**とそれを学習させた**AIシステムの開発**

イメージ図



1-4. 健康医療ビッグデータの臨床試験への活用に向けた取り組み

- クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN※)及び公的医療情報データベースを臨床試験に活用することにより、臨床試験の試験期間短縮、成功確率の向上、コスト削減が期待
- そのためにも、**CINの整備・強化、公的医療情報データベースの臨床試験への活用と制度整備**が重要であり、**産学官での議論**が必要

CIN: 効率的な創薬のための環境整備を進めるため、国立高度専門医療研究センターや学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク

CINの整備・強化

- 中央支援機関によるガバナンス強化(同一疾患の統合・整理)
- 企業ニーズを取り入れたレジストリ※の構築。企業は利用料を支払う

公的医療情報データベースの活用

- NDBや難病DB等の利用範囲拡大、およびMID-NETの仕様改善等により、臨床開発促進に繋がる活用を産学官連携のもと推進

レジストリ: 特定の疾患、疾患群、治療や医療機器等の医療情報の収集を目的として構築したデータベース

健康医療ビッグデータに対応した柔軟な制度整備

- レジストリを治験の対照群として活用、等

- ①臨床試験の実施可能性判断、②被験者選定、
- ③治験対照群、④臨床試験計画策定、
- ⑤RWDによる効能追加、⑥市販後安全性監視等に活用

- 臨床試験の期間短縮、成功確率の向上、コスト削減
- 患者の新薬アクセスの早期化

2-1. 目指すべきヘルスケアイノベーション創出エコシステムの姿

- **アカデミア、ベンチャー、ファンド、行政、医療機関等を含む**広範なエコシステムの構築**により、**医薬・医療イノベーション**を創出**

 - ✓ 様々なステークホルダーの有機的な連携による基礎研究と実用化研究開発の推進
 - ✓ 企業間連携の強化、医療系ベンチャーの創出・育成

- **日本国内に閉じず、米国をはじめとする**世界とつながるエコシステム**の構築**

 - ✓ 海外の研究機関・研究者と連携した研究開発の評価システム
 - ✓ 海外の研究機関・研究者や投資家等のネットワークとの連携



2-2. 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするために

革新的な医薬品を継続して創出し、「創薬立国日本」の国際的地位を維持・向上させるためにはエコシステムの確立が急務であり、AMEDには今後もその中において重要な役割を担うべく、更なる機能強化をして頂きたい

多対多のPPP※1により、下記のとおり取り組むことが必要

- ① 健康医療ビッグデータの活用による疾病メカニズム解明への挑戦
・健常状態～発症段階のゲノム情報や臨床情報等の統合と活用
がん、認知症をはじめとする精神・神経疾患、難病
- ② 創薬研究基盤の整備・共有
・モダリティ・創薬効率化AIの共同開発や最先端設備の共同活用
- ③ 企業側の現物出資(人材、研究資材、創薬ノウハウ、PJ運営など)や資金による貢献

※1: 複数の企業、複数のアカデミア・医療機関・公的機関が参画する産学官連携パートナーシップ

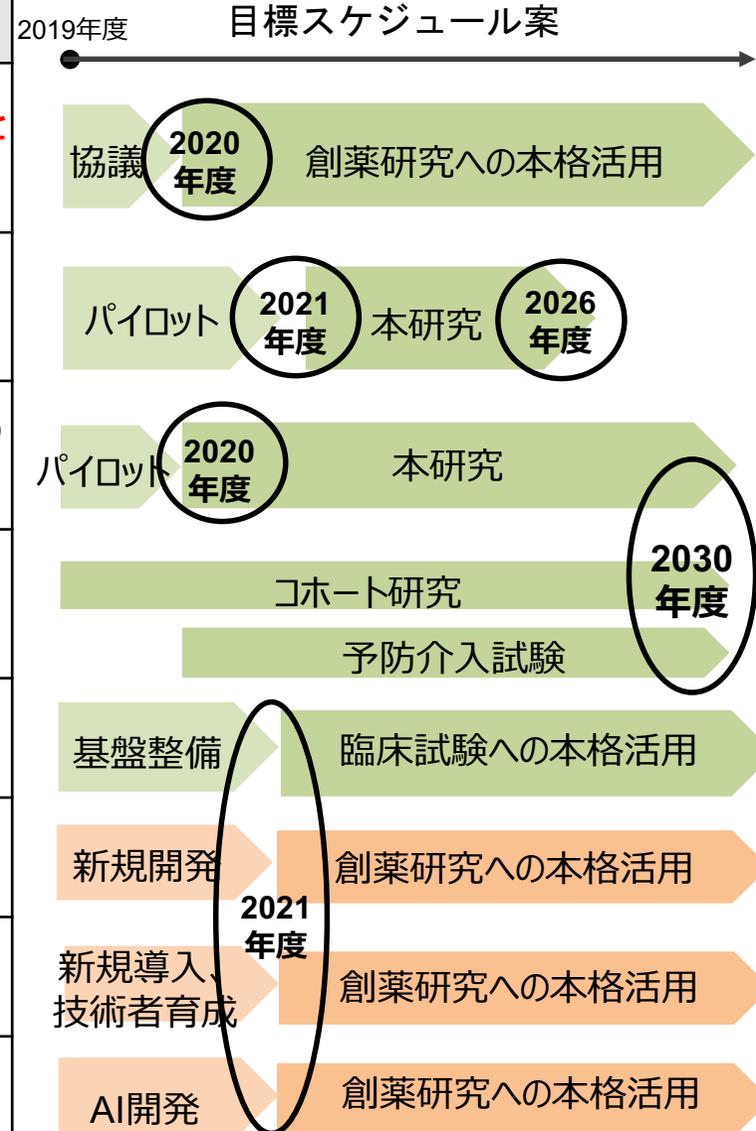
必要な政策

- AMED基金の創設、政府予算投入による、AMEDが数年に渡って機動的に使用できる予算の手当て・拡充※2
- AMEDの運営費交付金の増額による、PPPの運営を強かにリードするための人材確保として、正社員の増員、企業を含めた外部人材の活用、AMED組織の強化

※2: 平成31年1月17日に、科学技術・イノベーション創出の活性化を通じた知識・人材・資金の好循環の構築を目的とし、「科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律」が施行された。本法律により、新たな政策ニーズに対応して迅速に研究開発プログラムを立ち上げることができるよう、補正予算等が措置された場合に、個別の法改正によらず、資金配分機関(AMED等)に基金を造成できるスキームが構築された。

2-3. 3つの課題に向けた具体的な提案

取り組み名



- | | |
|---|---|
| ① | がんゲノム情報管理センター(C-CAT)と連携したがんゲノム情報と臨床情報等の創薬研究への活用(領域:がん) |
| ② | 患者のゲノム情報と臨床情報等を統合したデータベースの構築と創薬研究への活用(領域:精神・神経疾患、自己免疫疾患等) |
| ③ | 東北メディカル・メガバンクと連携した疾患発症過程データベースの構築と創薬研究への活用(領域:認知症、精神・神経疾患等) |
| ④ | アルツハイマー病発症過程の解析と予防的介入試験(領域:認知症) |
| ⑤ | 疾患レジストリの再整備と臨床試験への活用(領域:難病、精神・神経疾患、がん等) |
| ⑥ | 産学連携による、新規モダリティの開発・共有 |
| ⑦ | クライオ電子顕微鏡の産学共同活用 |
| ⑧ | 低分子化合物のデータを基にした創薬研究を効率化するAIの共同開発 |

※①～⑤は健康医療ビッグデータ関連

製薬協 政策提言2019の全体像

テクノロジー新時代のイノベーション
創出に向けた環境整備

イノベーションの推進と国民皆保険の
持続性の両立を求めて

① 予防・先制医療ソリューション
の早期実用化

② 健康医療ビッグデータ
及び AIの開発・活用

③ ヘルスケアイノベーション
創出エコシステムの構築

研究
開発

新薬
創出

価値
創造

継続
投資

保険制度における負担と給付
の見直し

保険制度におけるイノベーション
(モノ) の適正評価

- ① 医薬品の多面的評価の
必要性
- ② イノベーションの評価と
保険財政の調和

現
状

- ・ データヘルス時代の到来
- ・ 医薬・医療イノベーション創出国としての
相対的な地位の低下
- ・ 健康寿命と平均寿命のギャップ

- ・ イノベーションの成果である医薬品が社会的なコストと捉
えられている
- ・ 医薬品の多様な価値が薬価に反映される制度が必要
- ・ 現行制度では、医薬品の価値が適切に反映されているか
国民にとってわかりにくい

イノベーションの適切な評価

優れた医薬品が持つ多面的な価値を適切に評価し、
薬価に反映する仕組みづくりが必要

- イノベーションの成果である医薬品は、社会的なコストではなく、健康長寿社会実現への投資であり、重要な社会インフラとして位置付けるべき
- イノベーションの成功により新たな医薬品が生まれることは、患者さんを治療する「**医療的価値**」だけではなく、回復した患者さんの就労や介護者の負担軽減など経済性、労働生産性を向上させたり、政策的に必要な医薬品の開発促進や科学技術の進歩に寄与するといった「**社会的価値**」など多面的な価値があり、これらの価値が薬価に反映される制度設計が必要

医療的
価値

- 有効性/安全性
- 新規性
- 治療方法の改善
- 利便性

社会的
価値

- 経済性
- 労働生産性
- 医療政策の推進
- 医学・薬学の発展

薬価への適切な反映

薬価収載時の評価充実
加算体系の見直し等

薬価収載後の評価充実
新薬創出等加算の見直し等

薬価制度におけるイノベーションの適切な評価

医療的価値の評価体系を改善した上で、
社会的価値を反映できる仕組みに再編すべき

2020年度 薬価制度改革

医薬品の医療的価値を適切に反映できるよう、
新薬創出等加算の改善や加算体系の再編
など、薬価制度の見直しが必要。

新薬創出等加算の改善

新薬の加算体系の再編
〔医療的価値〕

類似薬選定の基準見直し

2022年度 薬価制度改革

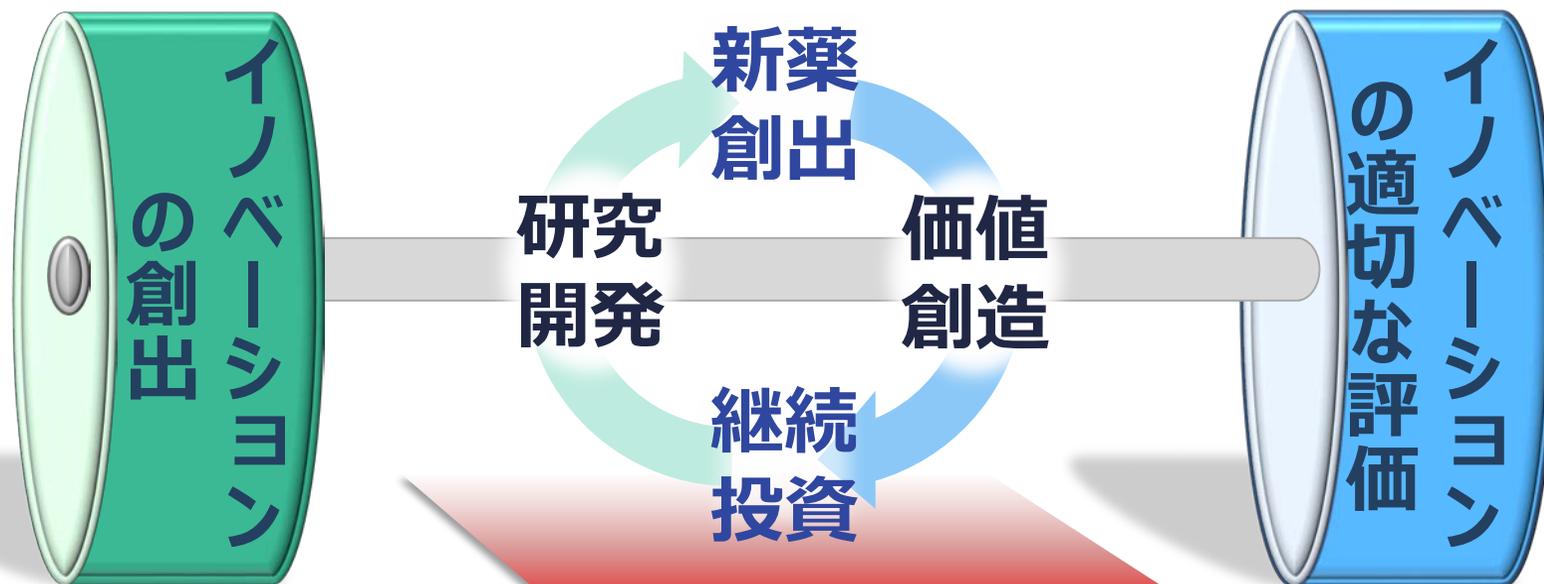
医薬品の社会的価値を適切に反映できるよう、
評価方法を確立した上で、加算体系の再編が
必要。併せて、国民にとって納得性の高い仕組
みとなるよう、薬価算定の透明性を向上させる
べき。

新薬の加算体系の再編
〔社会的価値〕

国民に分かり易い
評価システムの確立

『イノベーションの創出』と『イノベーションの適切な評価』

革新的新薬の恩恵を広く日本にもたらし、
健康寿命の更なる延伸を可能とするために、
『イノベーションの創出』と『イノベーションの適正評価』を
車の両輪として強力に推進することが不可欠



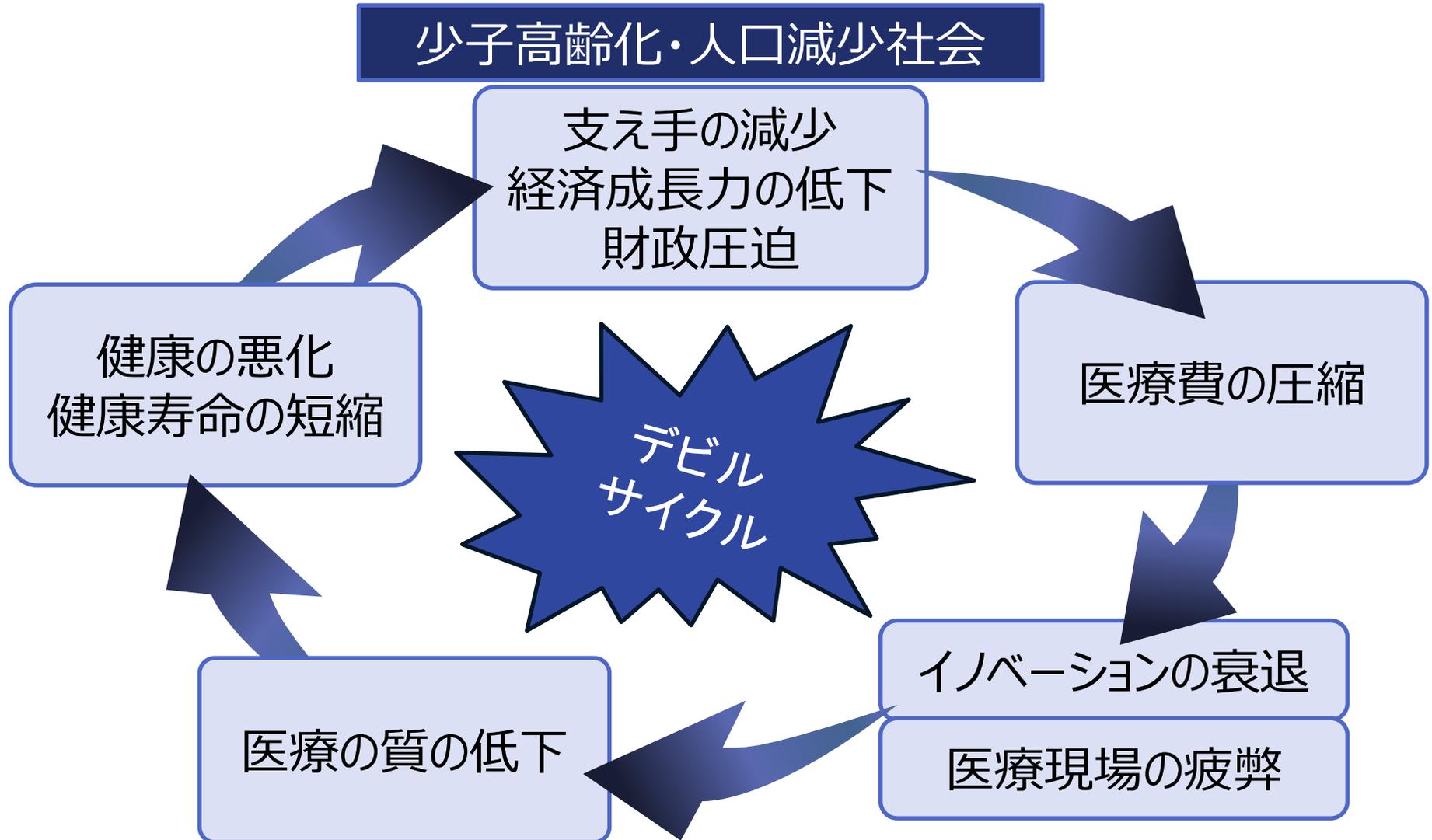
健康寿命の更なる延伸

参考資料

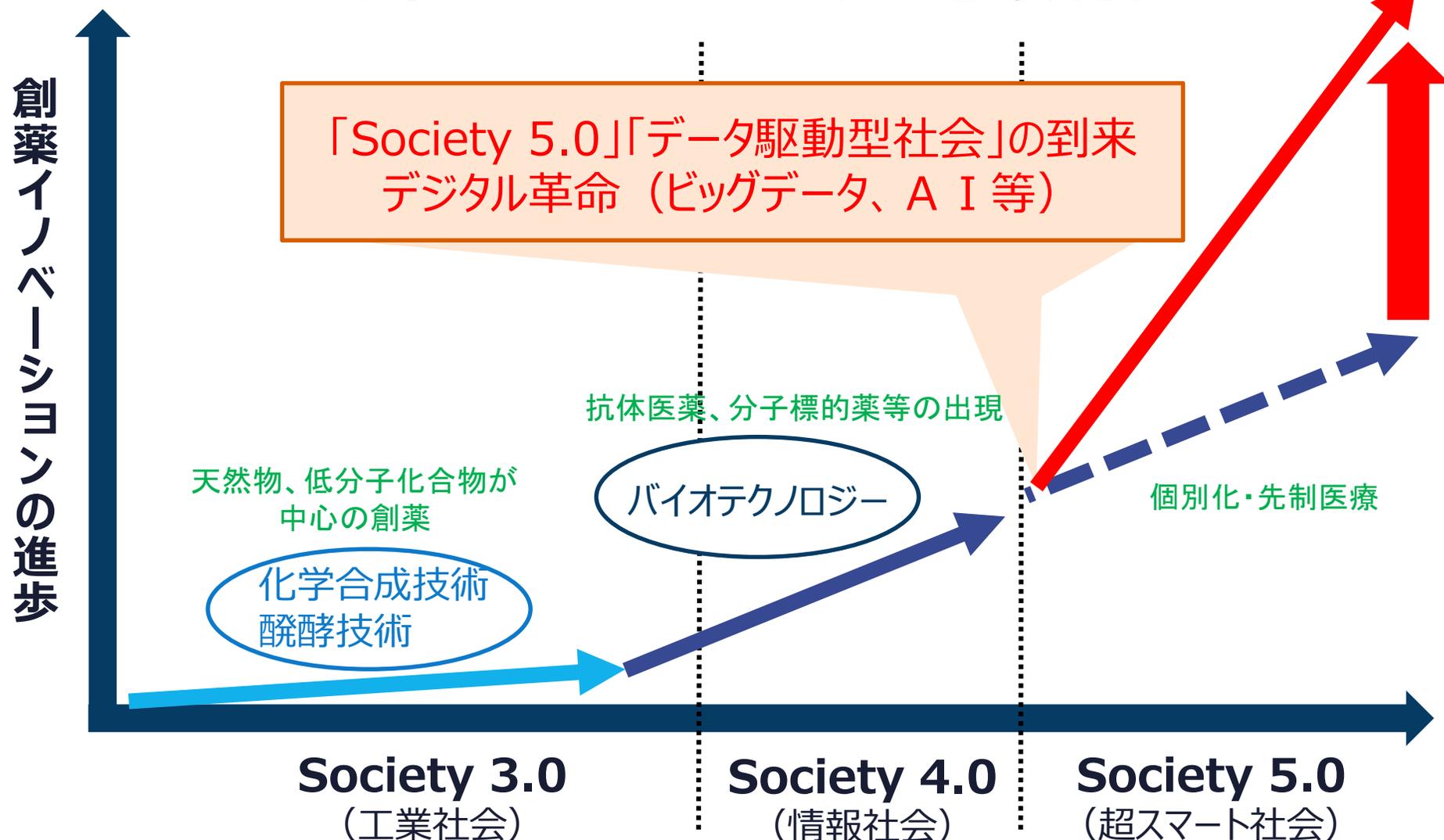
AMR*（薬剤耐性）対策について

- AMRはグローバルな脅威であり、何も対策を講じなければ、2050年には死亡者数が年間1,000万人に達するとの報告がある。
- 新規抗菌薬の研究・開発が益々困難になっていることに加え、適正使用推進の下、新規抗菌薬の使用制限は厳格となり、多くの大手製薬会社は抗菌薬領域の研究・開発から撤退している。
- 研究開発促進のための様々な施策により、いくつかの新規抗菌薬が臨床使用できるようになり、明るい兆しが見えたが、上市に至ったとしても供給継続の困難さは変わっていない。また、既存抗菌薬の安定供給も原薬調達等の問題により困難な状況に陥っている。
- 上市後に、新規抗菌薬の安定供給を継続するための施策の導入と、既存抗菌薬の安定供給のための早期の環境整備を求める。

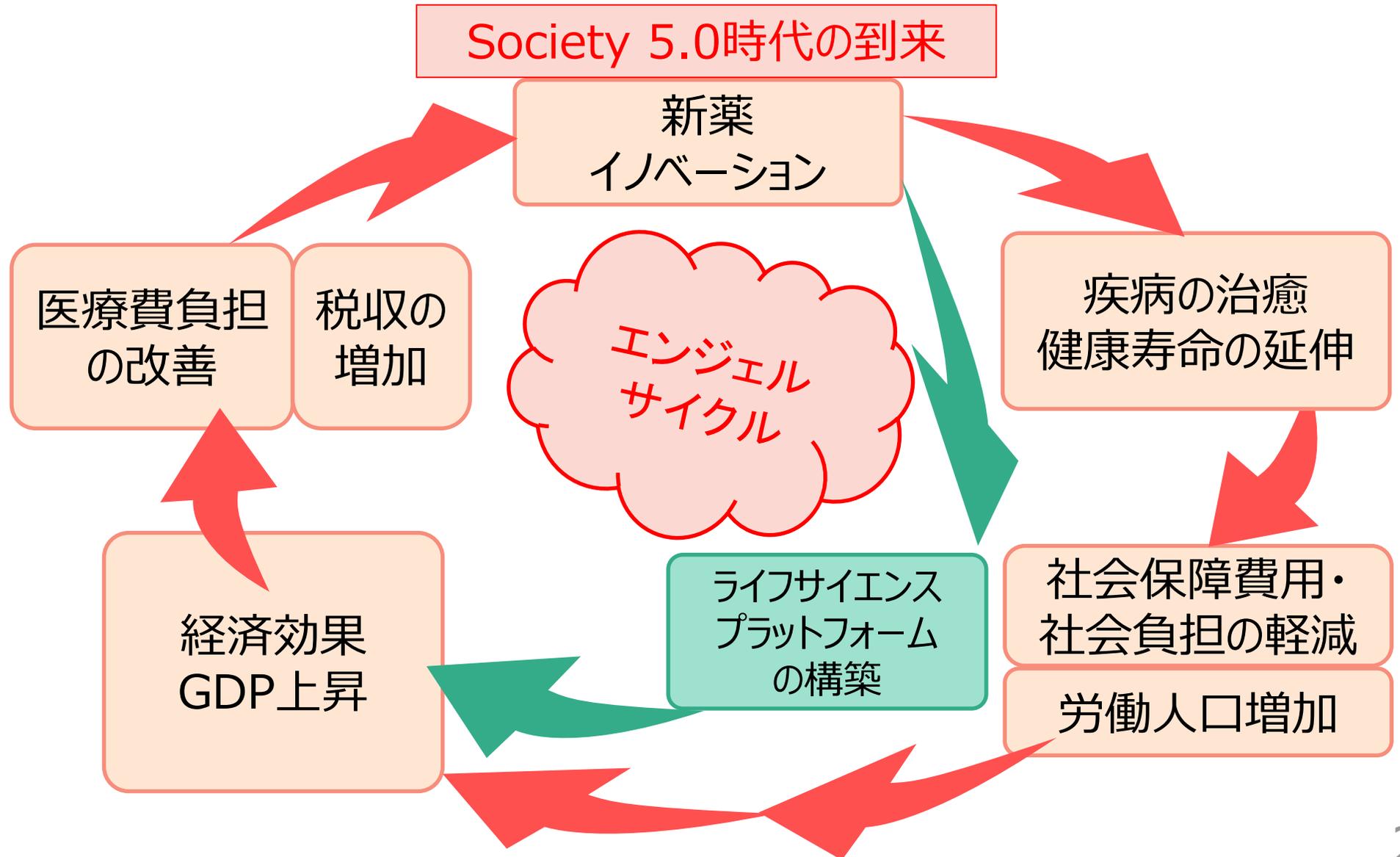
「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」のジレンマ



Society 5.0で期待される 創薬イノベーションの大きな進展



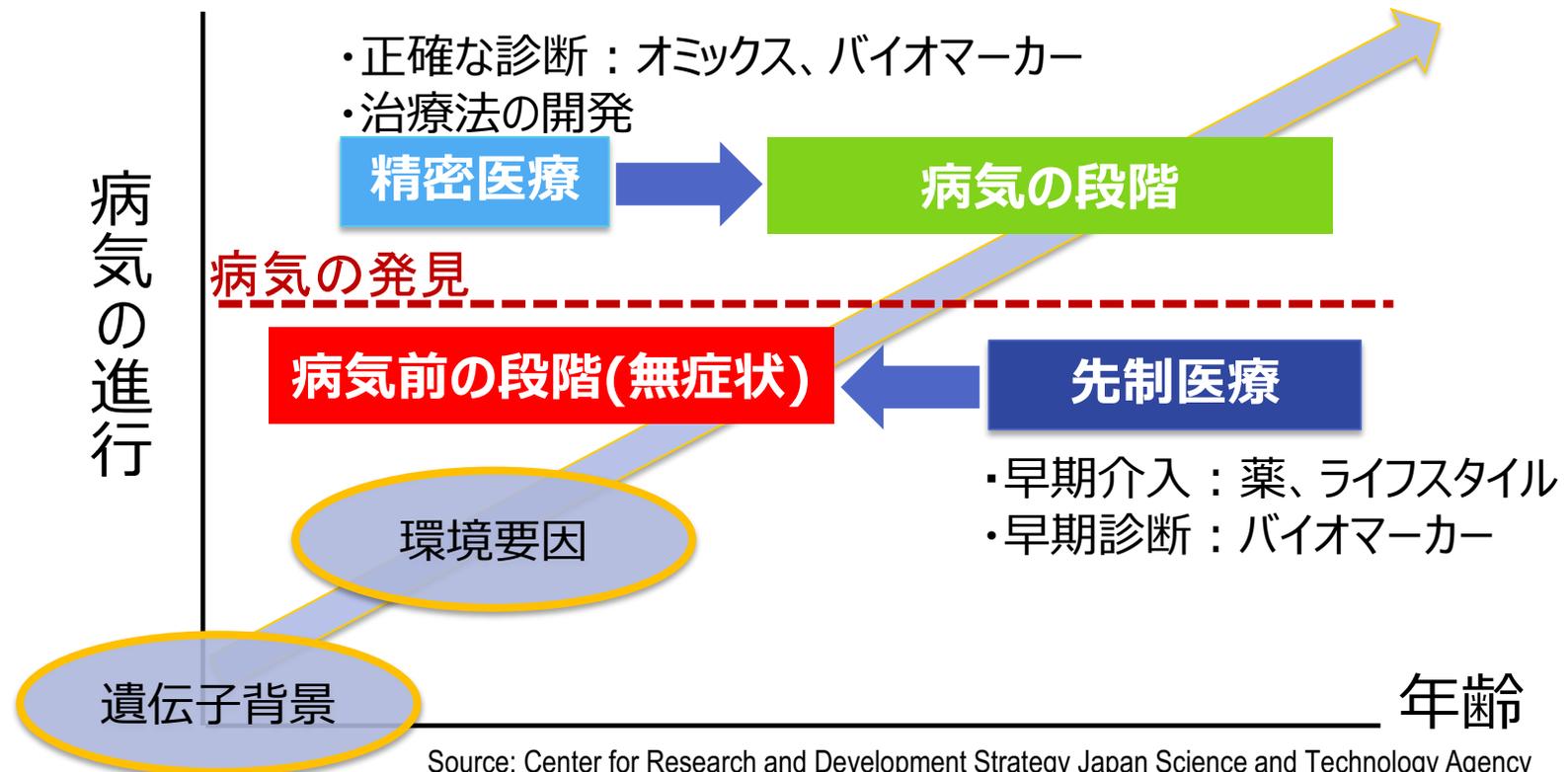
ライフサイエンス・イノベーションによりエンジェルサイクルに転換



健康寿命延伸に向けた予防・先制医療ソリューション

- 健康寿命の延伸のため、疾患の発症前あるいは発症早期の段階で、発症予測・早期診断し、予防・早期介入することが重要
- 前向きコホート研究と疾患コホート研究は複数の遺伝子因子と環境要因が引き起こす疾患の発症予防、進行抑制、重症化予防に資する医学・創薬研究に重要

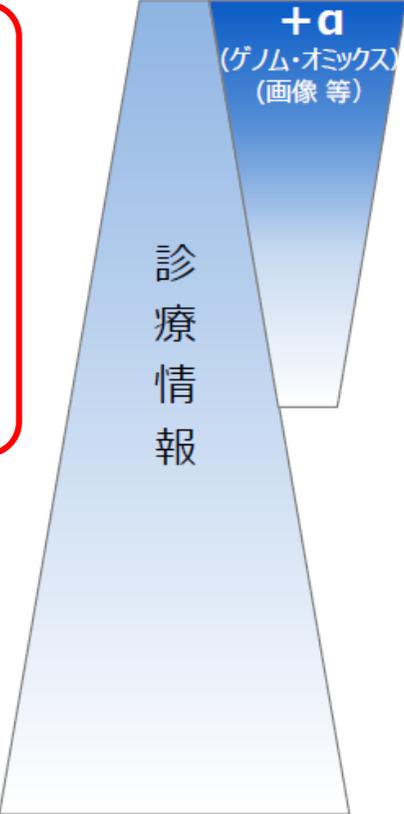
※コホート研究：疾病の発生に影響を与えると仮定される要因に曝露されている集団とさらされていない集団とで、疾病の発生状況の差を比較する研究



Source: Center for Research and Development Strategy Japan Science and Technology Agency Strategic Initiative, Promoting Preemptive Medicine in a Hyper-Aged Society, Modified.

健康医療ビッグデータの活用目的と必要なデータ

目的毎に必要なデータの質・量は異なる
 ポイントは、**質**（連結・項目）、**量**（対象者数）、**二次利用**

	主な活用目的	必要なデータ	
研究 開発	ターゲット探索 バイオマーカー探索 発症要因解析 リポジショニング	<ul style="list-style-type: none"> 日常診療データだけでなく、疾患固有の詳細なデータが必要 (ゲノム・オミックス、特殊な検査・画像、表情・声など) 	狭く、深いデータ 
	治験フイージビリティ検証 患者リクルート 治験対照群 試験デザイン（層別化） RWDによる適応追加	<ul style="list-style-type: none"> 標準化された質の高いアウトカムを含むデータが必要。 将来的には、質の高いRWDを広く収集できる環境が必要。 	
PMS (MA含)	安全性・有効性の 検証・エビデンス創出 使用実態の把握 副作用シグナル検出	<ul style="list-style-type: none"> レセプト、DPC、電子カルテ等のアウトカムも含まれたデータ 長期のフォローデータ 	
情報提供 ・流通	地域に根差した医療貢献 効率的な情報提供収集 流通管理	<ul style="list-style-type: none"> レセプト、DPC、電子カルテ等のデータ (網羅性が高いことが望ましい) 	

「製薬協 政策提言2019」について

政策提言を2019年1月24日に発表、製薬協HPに掲載

○製薬協 政策提言2019

—イノベーションの追求と社会課題の解決に向けて—

http://www.jpma.or.jp/event_media/release/pdf/20190124_1_1.pdf

○次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案

http://www.jpma.or.jp/event_media/release/pdf/20190124_1_2.pdf

令和元年 5 月 20 日

厚生労働大臣 根本 匠 殿

日本製薬工業協会会長
中山讓治

日本におけるがんゲノム医療の推進と研究成果の創薬への活用について

- 現在、世界的に見ても、ゲノム情報等を利活用した研究開発は広く行われており、日本においても、その環境整備は非常に重要です。本邦においても、様々なゲノム医療に関連した研究や開発が行われていますが、今般、特にがんの分野で、ゲノム医療が実装化されようとしています。
- 日本製薬工業協会では、「製薬協 政策提言 2019」の中で、「テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備」を掲げています。特に、がんゲノム医療はその中でも、重要な取組のひとつと考えています。
- 国が進めるがんゲノム医療推進コンソーシアムでは、がんゲノム医療を受けた患者の臨床情報やゲノム情報が集約され、利活用されることとされており、中央社会保険医療協議会では、保険診療下で行われるパネル検査については、「がんゲノム情報管理センター」への情報の提出を要件とすることが議論されました。その情報が患者や国民に裨益することに大きな期待が寄せられています。
- 日本製薬工業協会としては、実際の創薬や研究開発を含めた利活用には、疾患固有の詳細なデータとして、日常診療データと、創薬の研究開発に資する元データとしてのゲノム情報が、「がんゲノム情報管理センター」に集約されるとともに、データを提出する企業に不利益が生じないように配慮しつつ、国として迅速かつ公平にそれらの情報を利活用できる体制を整えることを強く望みます。
- 「がんゲノム情報管理センター」で集約される臨床情報やゲノム情報が適切に利活用され、その成果が患者や国民に還元されるよう、国や省庁が主導し、適切な体制で運営されることを要望させていただきます。

以上