

厚生労働省提出資料

2019年11月

1. 2040年を展望した社会保障改革 について

2040年を展望し、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現

- 2040年を展望すると、高齢者の人口の伸びは落ち着き、現役世代（担い手）が急減する。
→「総就業者数の増加」とともに、「より少ない人手でも回る医療・福祉の現場を実現」することが必要。
- 今後、国民誰もが、より長く、元気に活躍できるよう、以下の取組を進める。
①多様な就労・社会参加の環境整備、②健康寿命の延伸、③医療・福祉サービスの改革による生産性の向上
④給付と負担の見直し等による社会保障の持続可能性の確保
- また、社会保障の枠内で考えるだけでなく、農業、金融、住宅、健康な食事、創薬にもウイングを拡げ、関連する政策領域との連携の中で新たな展開を図っていく。

2040年を展望し、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

≪現役世代の人口の急減という新たな局面に対応した政策課題≫

多様な就労・社会参加

【雇用・年金制度改革等】

- 70歳までの就業機会の確保
- 就職氷河期世代の方々の活躍の場を更に広げるための支援
(厚生労働省就職氷河期世代活躍支援プラン)
- 中途採用の拡大、副業・兼業の促進
- 地域共生・地域の支え合い
- 人生100年時代に向けた年金制度改革

健康寿命の延伸

【健康寿命延伸プラン】

⇒2040年までに、健康寿命を男女ともに3年以上延伸し、**75歳以上**に

- ①健康無関心層へのアプローチの強化、
②地域・保険者間の格差の解消により、以下の3分野を中心に、取組を推進
・次世代を含めたすべての人の健やかな生活習慣形成等
・疾病予防・重症化予防
・介護予防・フレイル対策、認知症予防

医療・福祉サービス改革

【医療・福祉サービス改革プラン】

⇒2040年時点で、単位時間当たりのサービス提供を**5%（医師は7%）以上改善**

- 以下の4つのアプローチにより、取組を推進
・ロボット・AI・ICT等の実用化推進、
データヘルス改革
・タスクシフティングを担う人材の育成、
シニア人材の活用推進
・組織マネジメント改革
・経営の大規模化・協働化

≪引き続き取り組む政策課題≫

給付と負担の見直し等による社会保障の持続可能性の確保

社会保障制度の新たな展開を図る政策対話の成果【創薬】

- 今後、2040年を展望し、**誰もがより長く元気で活躍できる社会を実現していく上で、創薬分野でのイノベーションへの期待は非常に大きい**。そうした観点から、医薬品産業やアカデミアとの政策対話を実施。（令和元年5月20日実施）
- 我が国で革新的医薬品が生まれ出される環境整備を図り、**基礎研究から実用化に向けた一連の流れを関係省庁一丸となつて支援するとともに、日本発医薬品の国際展開を推進し、海外市場にも展開する「創薬大国」の実現を目指す**。

対話で得られた知見・提言

- 官民対話では、**創薬イノベーションの強化に向けた今後の方策などを中心に、日米欧の製薬団体から提言**が行われた後、**アカデミア、関係省庁も交えて意見交換**が行われた。
※ 医療機器についても、産業界との官民対話を定期的に開催（今回は平成30年12月3日に開催）しており、今後も継続的に開催
- その結果、国民の健康寿命の延伸に向けては、
・ データやテクノロジーを最大限に活用し、創薬技術・プロセスを効率化・高度化していくこと
・ 他産業やベンチャー企業、アカデミアと連携してイノベーションを創出（オープンイノベーション）すること
などにより、**我が国でより多くの革新的な医薬品が生まれ出され、国民に優れた医薬品がスピーディに届けられる環境を整備していく重要性**を認識。
※ 国内外の製薬産業が我が国で革新的な医薬品を創出していくインセンティブとして、イノベーションに対する更なる評価を求める意見もあった。
- 加えて、創薬を巡る国際競争が激しくなる中においては、**我が国で製造開発された医薬品の国際展開を図るための環境整備を図ることの重要性**も改めて確認した。
- さらに、我が国の製薬産業が、
・ 疾病**治療だけでなく予防分野での取組を進めていくこと**や、
・ 周辺産業との結びつきを強めながら、**医薬品というモノだけでなく、国民のヘルスケアのためのサービス・ソリューションを提供する産業に転換していくことが重要**、との意見もあった。

今後の対応方針（施策）

■ 我が国で革新的な医薬品が生まれ出される環境整備

- ◎ **データやテクノロジーを活用した創薬支援**
 - ・ 認知症の治療法等の開発に資するデータベースの整備・拡充【健康寿命延伸】
 - ・ がんゲノム医療（全ゲノム検査を含む）の実装に向けたゲノム情報収集体制の整備【医療・福祉サービス改革】
 - ・ 創薬の推進に向けた疾患別のデータベース（CIN）の充実【医療・福祉サービス改革】
 - ・ AIの活用による医薬品の研究開発支援【医療・福祉サービス改革】
 - ・ 医薬品開発の促進に資する薬事規制の合理化 等

◎ オープンイノベーションの更なる推進

- ・ 産学官連携による新薬創出に向けた研究開発の推進
- ・ イノベーションの担い手たる医療系ベンチャーの支援強化
- ・ 研究開発税制（オープンイノベーション型）の活用促進 等

■ 日本発医薬品の国際展開の推進

- ◎ **アジア医薬品・医療機器規制調和の推進**
- ◎ **医薬品等の国際展開に向けた環境整備のための人材育成**

■ 攻めの医薬品産業への支援

- ・ 製薬企業とそれ以外の産業（ICT産業等）やベンチャー企業などとの交流の場を設定するなどにより、製薬企業の予防・ヘルスケア分野への進出を促進。
- ・ 認知症の治療法等の開発に資するデータベースの整備・拡充【健康寿命延伸】※再掲

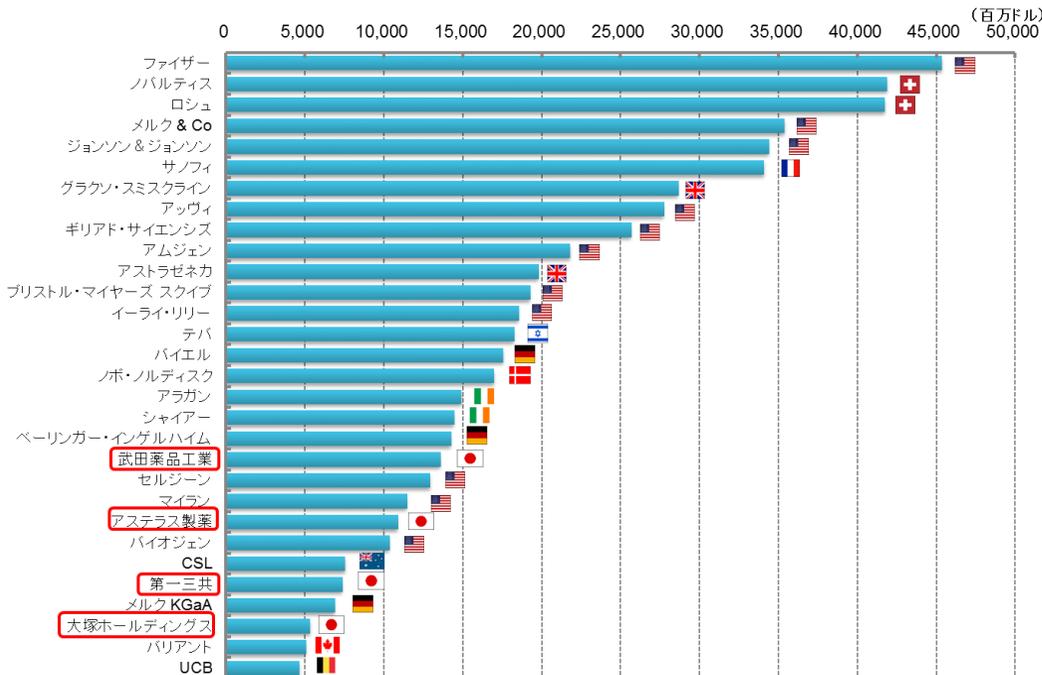
2. 医薬品産業の現状について

医薬品産業の現状と課題

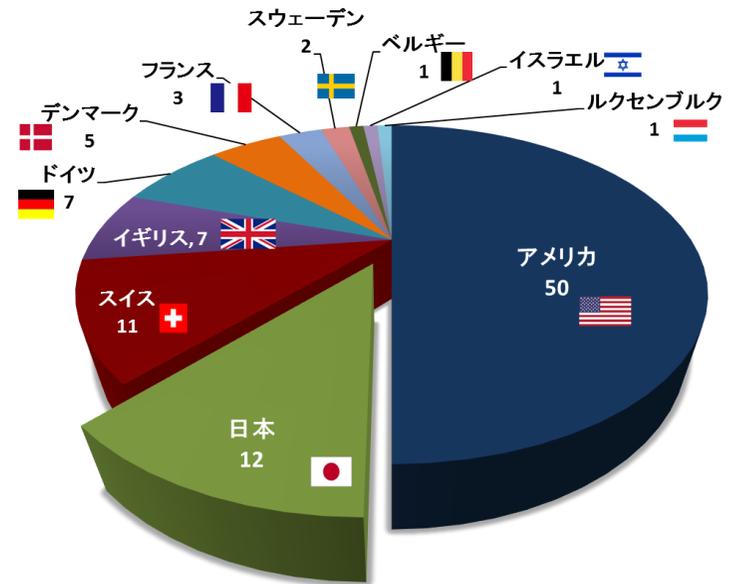
主な現状と課題

- I 我が国は数少ないグローバルな医薬品開発の拠点の一角を占めている
- II 医薬品開発の費用は高騰する一方、日本企業の規模は小さい
- III 多くの大手製薬企業が長期収載品に収益を依存しており、転換が急務
- IV 基礎的医薬品は、度重なる薬価改定で一部について採算が悪化、安定供給策が必要
- V 後発医薬品市場は、経営規模が小さい企業が多数存在し、体質強化が課題

世界大手製薬企業の医薬品売上高(2017年)



医療用医薬品世界売上上位100品目の国別起源比較(2017年)



注: 特許帰属企業の国籍による分類
 2017年売上上位100品目を、オリジン企業国籍別に集計した
 出所: Copyright©2018 IQVIA, World Review Analyst 2018, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Pharmaprojects, Evaluate
 Pharma, Integrityをもとに作成(無断転載禁止)
 出典: 医薬産業政策研究所 政策研ニュースNo.55(2018年11月)

医療用医薬品世界売上上位30品目(2017年)

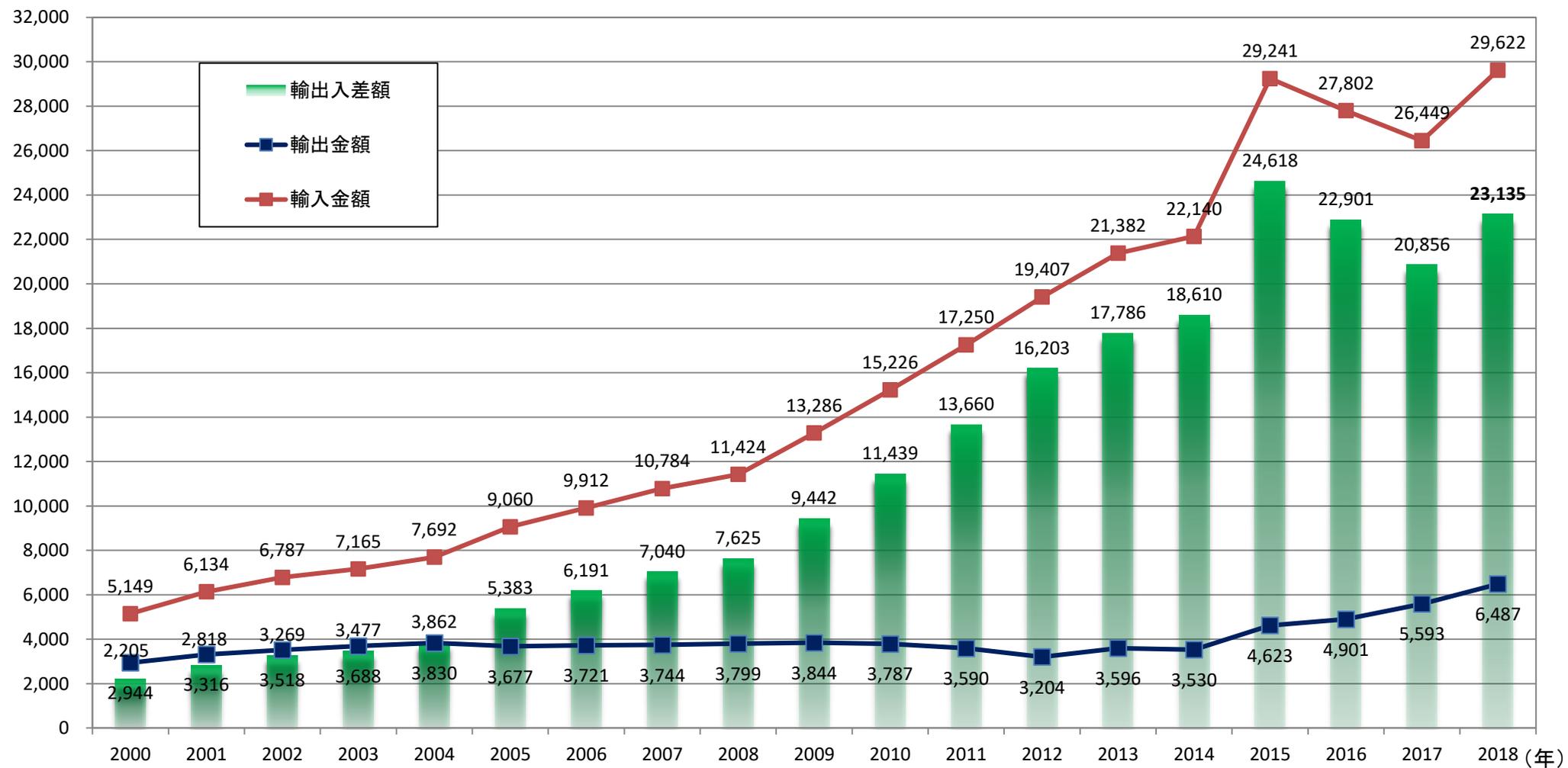
順位	製品名	一般名	主な適応疾患	メーカー名			売上高 (百万ドル)	前年比 伸び率	日本メーカー 創製品	バイオ 医薬品
1	ヒュミラ	アダリムマブ	関節リウマチ	AbbVie	エーザイ		18,923	15%		○
2	エンブレル	エタネルセプト	関節リウマチ	Amgen	Pfizer	武田薬品工業	8,234	-11%		○
3	レブラミド	レナリドミド	多発性骨髄腫	Celgene	BeiGene		8,191	17%		
4	リツキシマン	リツキシマブ	非ホジキンリンパ腫	Roche	Pharmstandard		7,528	1%		○
5	レミケード	インフリキシマブ	関節リウマチ	Johnson & Johnson	Merck	田辺三菱製薬	7,172	-11%		○
6	ハーセプチン	トラスツズマブ	乳がん	Roche			7,126	4%		○
7	アバスタチン	ベバススマブ	転移性結腸がん	Roche			6,795	-1%		○
8	アイリーア	アプリヘルセプト	加齢黄斑変性症	Regeneron	Bayer	参天製薬	6,291	14%		○
9	オブジーボ	ニボルマブ	悪性黒色腫他	Bristol-Myers Squibb	小野薬品工業		5,761	22%	○	○
10	プレベナー-13	肺炎球菌ワクチン	肺炎球菌ワクチン	Pfizer	Daewoong		5,693	-2%		○
11	イグザレルト	リバーロキサバン	抗凝固剤	Bayer	Johnson & Johnson		5,640	13%		
12	ランタス	インスリングルルギン	糖尿病	Sanofi			5,223	-17%		○
13	リリカ	プレガバリン	神経性疼痛	Pfizer	Jeil Pharmaceutical		5,099	2%		
14	エリクース	アピキサバン	心室細動に伴う虚血性 脳卒中	Bristol-Myers Squibb			4,872	46%		
15	ジーラスタ	ベグフィルグラスチム	好中球減少症	Amgen	協和発酵キリン		4,713	-2%		○
16	ハーボニー	ソホスビル+レジパスビル	C型慢性肝炎	Gilead Sciences			4,370	-52%		
17	テクファイデラ	フマル酸ジメチル	多発性硬化症	Biogen Idec			4,214	6%		
18	アドエア	サルメテロール+フルチカゾン	喘息	GlaxoSmithKline	Faes Farma		4,069	-14%		
19	ジャスピア	シタグリブチン	2型糖尿病	Merck	小野薬品工業	Almirall / Daewoong	4,045	-5%		
20	ステラータ	ウステキヌマブ	尋常性乾癬	Johnson & Johnson			4,011	24%		○
21	コパキソン	グラチラメル	多発性硬化症	Teva	武田薬品工業		3,836	-10%		○
22	キイトルーダ	ペムプロリズマブ	悪性黒色腫他	Merck	大塚HD		3,823	173%		○
23	ゲンボイヤ	エルビテグラビル+コピシタット+エムトリシタピン+テノホビル アラフェナミドフマル酸塩	HIV-1感染症	Gilead Sciences	鳥居薬品		3,731	149%		
24	ビクトーザ	リラグルチド	2型糖尿病	Novo Nordisk			3,521	18%		○
25	エブクルサ	ソホスビル+ベルパタスビル	C型慢性肝炎	Gilead Sciences			3,510	100%		
26	ルセンティス	ラニビズマブ	加齢黄斑変性症	Novartis	Roche		3,325	2%		○
27	ジレニア	フィンゴモリド	多発性硬化症	Novartis	田辺三菱製薬		3,227	2%	○	
28	イムブルピカ	イブルチニブ	慢性リンパ性白血病	AbbVie	Johnson & Johnson		3,196	44%		
29	スピリーバ	チオトロピウム	COPD	Boehringer Ingelheim			3,193	-4%		
30	トリーメク	ドルテグラビルナトリウム+アバカビル硫酸塩+ラミブジン	HIV感染症	GlaxoSmithKline			3,172	35%	○	7

出所: Evaluate Pharmaをもとに医薬産業政策研究所にて作成

医薬品の貿易収支の推移

○ 2018年の医薬品における輸出入差額(=貿易収支)は、約2兆3135億円の赤字

(億円)



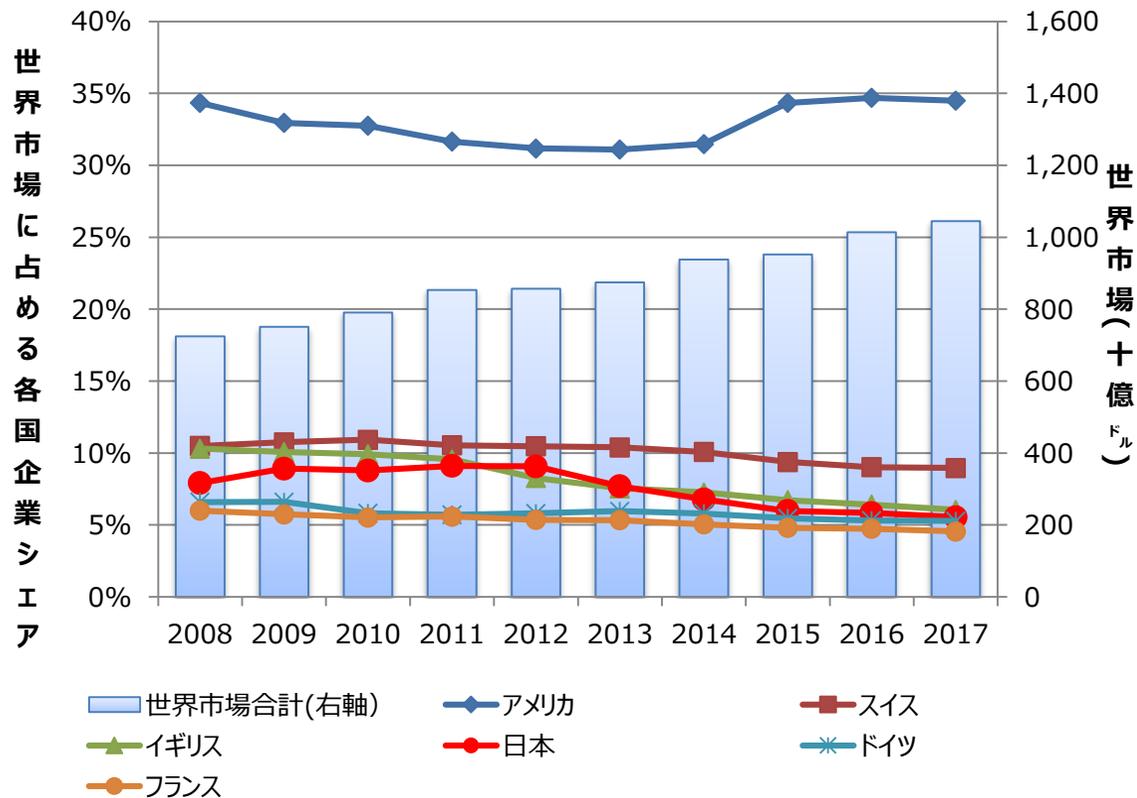
技術貿易収支の産業間比較（2016年度）

（単位：百万円）

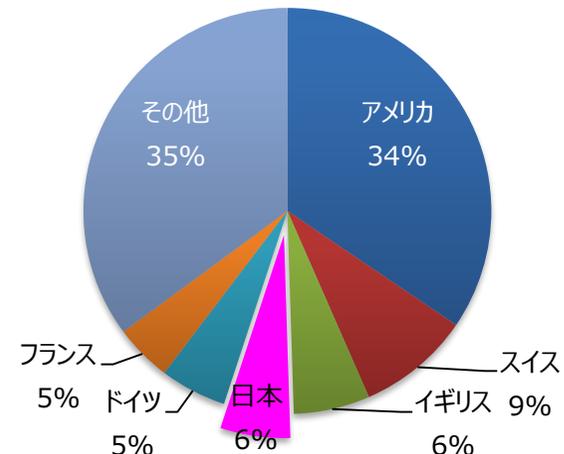
産業	技術輸出	技術輸入	収支差
全産業	3,571,922	452,890	3,119,032
製造業	3,477,799	365,579	3,112,220
医薬品	444,181	142,366	301,815
化学工業	58,583	18,916	39,667
ゴム製品	43,485	521	42,964
電気機械器具	164,641	24,376	140,265
情報通信機	252,866	85,994	166,872
自動車	2,143,817	17,353	2,126,464
情報通信業	29,367	64,942	▲35,575

医療用医薬品の世界市場に占める各国企業シェア推移

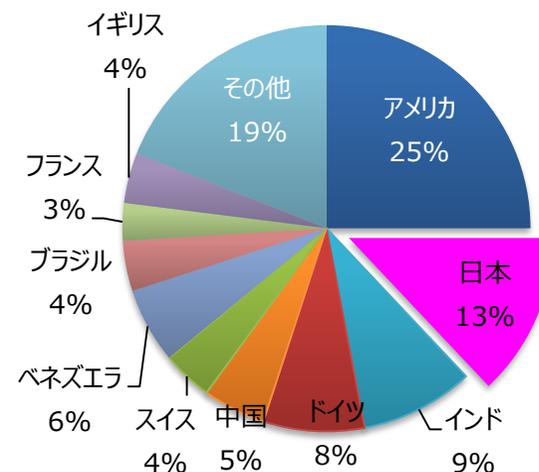
世界市場に占める各国企業売上シェアの推移



世界市場に占める各国企業の売上シェア(2017年)



世界売上上位100社に占める各国企業数シェア(2017年)

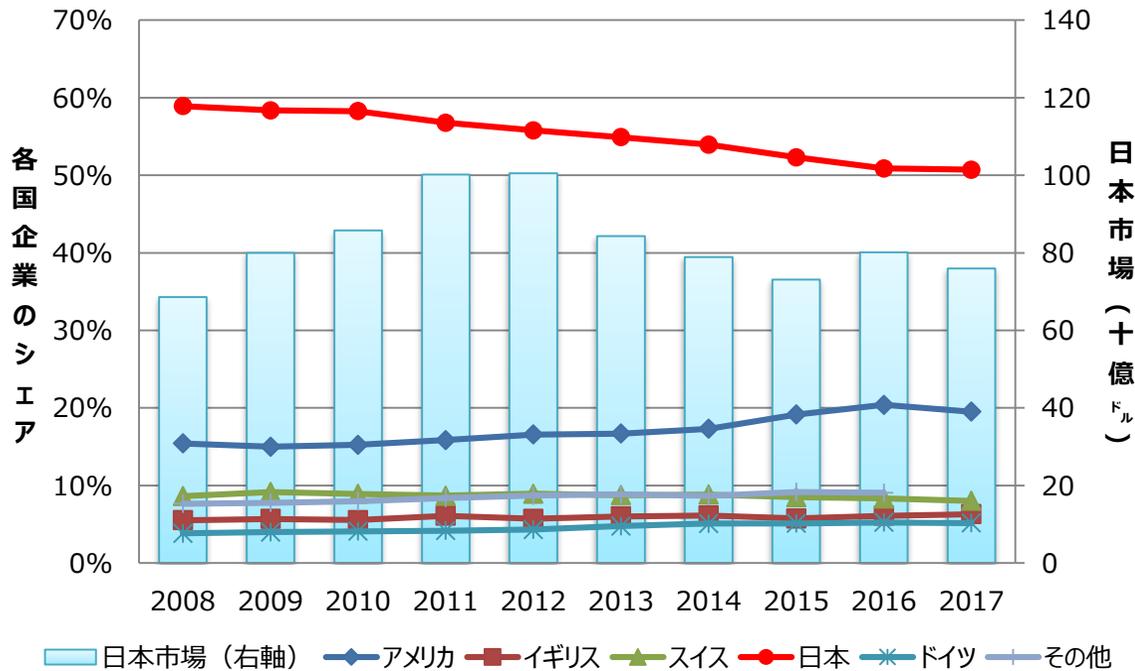


注: 各年売上上位100社を対象

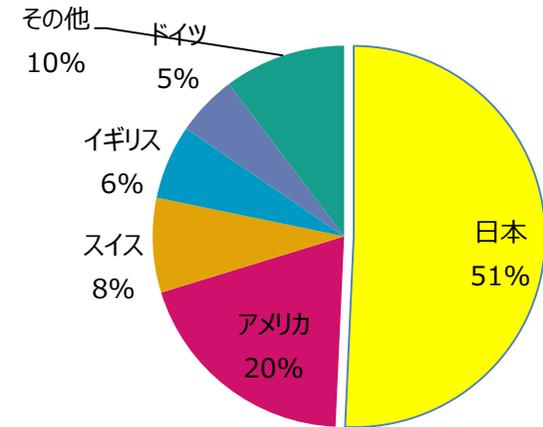
出所: Copyright©2019 IQVIA. World Review Analyst 2009-2018より医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)

医療用医薬品の日本市場に占める各国企業シェア推移

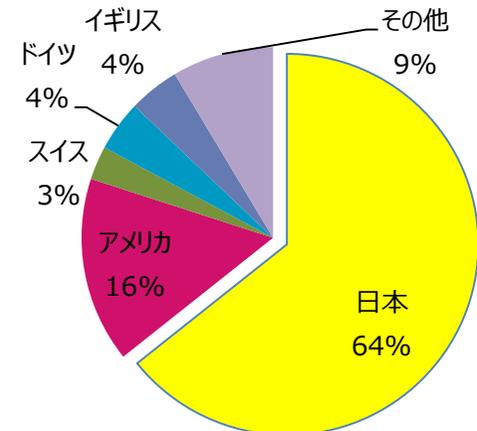
日本市場に占める各国企業売上シェアの推移



日本市場に占める各国企業の売上シェア(2017年)



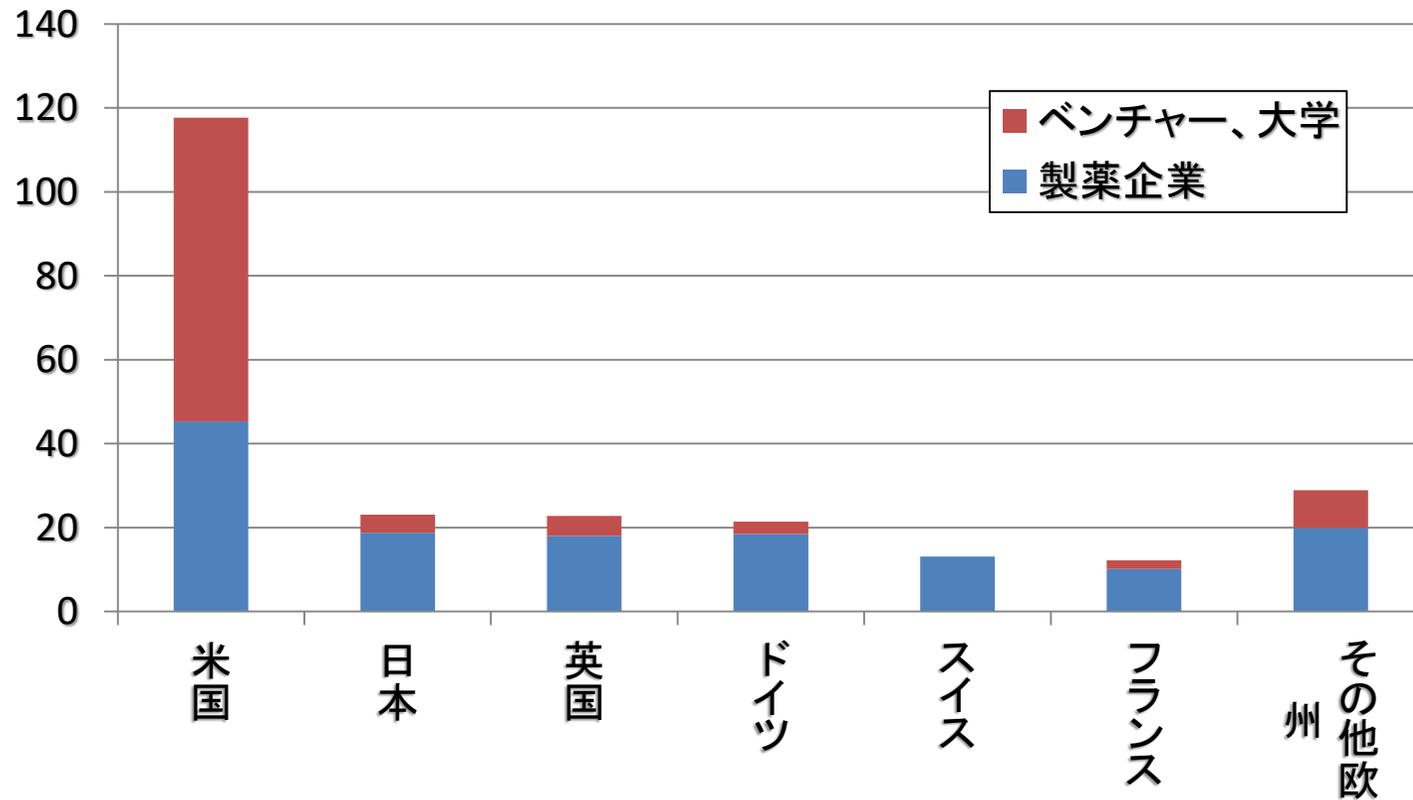
国内売上上位70社に占める各国の企業数シェア(2017年)



注: 各年売上上位100社を対象

出所: Copyright©2019 IQVIA. World Review Analyst 2009-2018より医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)

新薬開発のオリジン



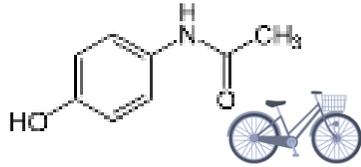
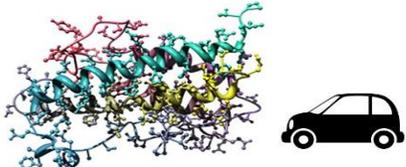
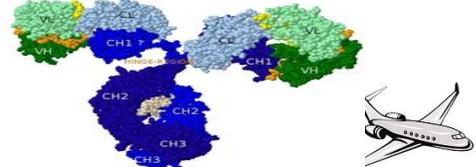
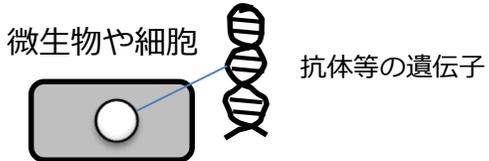
出典 : Robert Kneller, Nature Reviews Drug Discovery (November 2010)から作成

※ 経産省作成

バイオ医薬品について

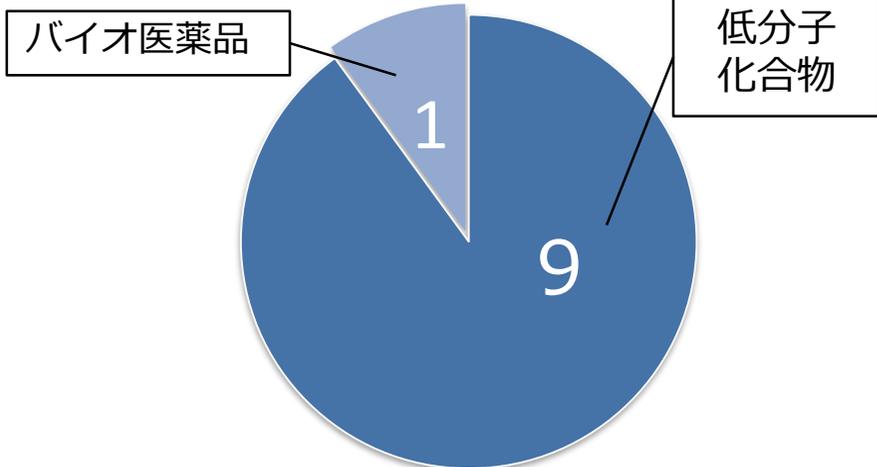
- バイオ医薬品とは、遺伝子組換え技術や細胞培養技術等を応用して、**微生物や細胞が持つタンパク質（ホルモン、酵素、抗体等）を作る力を利用して製造される医薬品**（例：インスリン（糖尿病治療薬）、インターフェロン（C型肝炎治療薬）、リツキシマブ（抗がん剤等））
- バイオ医薬品は80年代から開発されてきたが、最近の技術の進歩により新薬開発が加速している（2016年の世界売上げ高上位10品目のうち8品目がバイオ医薬品）

バイオ医薬品の特徴

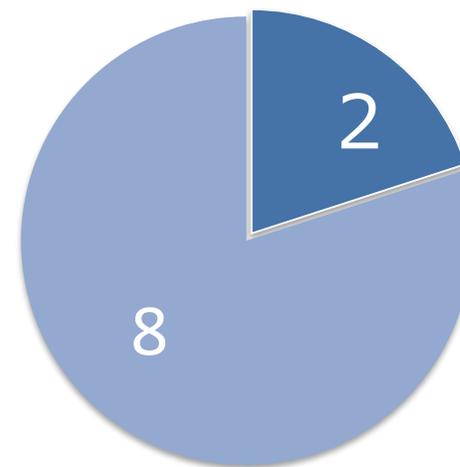
	一般的な医薬品	バイオ医薬品	
大きさ (分子量)	100~	約1万~ (ホルモン等)	約10万~ (抗体)
大きさ・複雑さ (イメージ)			
製造法 (イメージ)	化学合成 	微生物や細胞の中で合成 	
生産	安定	不安定（微生物や細胞の状態で 生産物が変わり得る ）	

創薬動向の変化 (世界売上上位10品目の推移)

2001年



2016年



	製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)
1	ゾコール(リポバス)	高脂血症薬	メルク	6,670
2	リピトール	高脂血症薬	ファイザー	6,449
3	オメプラール/ プリロゼック	抗潰瘍剤PPI	アストラゼネカ	5,684
4	ノルバルク	降圧剤Ca拮抗剤	ファイザー	3,582
5	メバロチン/ プラバコール	高脂血症薬	三共/BMS	3,509
6	プロクリット/ エプレックス	腎性貧血	J&J	3,430
7	タケプロン	抗潰瘍剤PPI	武田薬品/ TAP	3,212
8	クラリチン/D	抗ヒスタミン剤	シエリング・プラウ	3,159
9	セレブレックス	Cox2阻害剤	ファルマシア	3,114
10	ジプレキサ	精神分裂病薬	イーライ・リリー	3,087

	製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)
★	1 ヒュミラ	関節リウマチ	アッヴィ/エーザイ	16,515
★	2 エンブレル	関節リウマチ	アムジェン/ ファイザー/武田	9,248
★	3 ハーボニー	慢性C型肝炎	ギリアド・サイエンシ ズ	9,081
★	4 レミケード	関節リウマチ	J&J/メルク /田辺三菱	8,070
★	5 リツキサ	非ホジキンリンパ腫	ロシュ	7,432
	6 レブラミド	多発性骨髄腫	セルジーン	6,974
★	7 アバスチン	結腸・直腸がん	ロシュ /中外製薬	6,885
★	8 ハーセプチン	乳がん	ロシュ /中外製薬	6,884
	9 ランタス	糖尿病	サノフィ	6,322
	10 プレベナー	肺炎球菌	ファイザー	6,034

※ 黄色はバイオ医薬品、★はベンチャーオリジンの医薬品

3. 予算・税制について

<概要>

より高い創薬力を持つ産業構造への転換を図るため、我が国の創薬力強化にかかる創薬環境強化経費及び医療分野の研究開発関連経費（AMED経費）の予算を要求する。あわせて、研究開発税制を拡充し、製薬産業における研究開発投資の促進を図る。

1. 「医薬品産業強化総合戦略」の見直しに伴う 創薬環境強化経費

122.0(104.9)億円
<再掲除き>

1 日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善 87.1 (71.9)億円

がんゲノム医療の実現、データベース活用創薬、AIの活用

2 薬事規制改革等を通じたコスト低減と効率性向上

早期承認制度、リアルワールドデータの活用、規制改革 25.2(23.1)億円

3 医薬品の生産性向上（バイオシミラーを含む）と 製造インフラの整備

18.5(18.4)億円
<一部再掲>

品質管理ルールの整備、バイオ技術人材の育成

4 適正な評価の環境・基盤整備

臨床ガイドラインの整備、バイオシミラー使用促進

2.5(2.8)億円
<一部再掲>

5 日本発医薬品の国際展開の推進

国際規制調和、国際展開に向けた人材育成

19.5(19.3)億円
<一部再掲>

6 創薬業界の新陳代謝を促すグローバルなベンチャーの創出

医療系ベンチャー企業への支援、人材育成

5.8(5.8)億円

2. 医療分野の研究開発関連経費 (AMEDを通じて交付される経費)

474.0(475.4)億円
<再掲除き>

1 横断型統合プロジェクト

251.5(254.7)億円
<一部再掲>

革新的医薬品創出に向けた研究開発の充実、臨床研究中核病院を活用した革新的医薬品等の研究開発の推進にかかる経費等

2 疾患領域対応型統合プロジェクト

250.8 (236.5)億円
<一部再掲>

がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病等の各疾患領域に対応した研究開発の推進にかかる経費等

上記統合プロジェクト以外の研究開発等 74.7 (74.1)億円

3 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）

産学官の連携を通じて、新たな医薬品・医療機器等の創出に向けた研究開発等を推進

平成30年度補正予算で要求
(内閣府計上:250億円)



【研究開発税制の拡充】

- 1 オープンイノベーション型の大幅拡充
- 2 試験研究費の増加インセンティブ強化

医薬品産業強化総合戦略の主な改訂内容

- 我が国の医薬品産業について、長期収載品に依存するモデルから、より高い創薬力を持つ産業構造に転換するため、「医薬品産業強化総合戦略」を見直し、革新的バイオ医薬品等の研究開発支援やベンチャー企業への支援、流通改善に向けた取組を進める。

1 日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善

- がんゲノム医療推進コンソーシアムの構築による革新的な医薬品等の開発推進
- データベース情報の解析を踏まえた戦略的な革新的シーズ開発の推進
- 臨床研究・治験の患者向け公開データベースの整備

59.2億円（平成30年度49.1億円）

2 薬事規制改革等を通じたコスト低減と効率性向上

- 審査プロセスの予測性の高い開発支援型の「条件付き承認制度」や「先駆け審査指定制度」を制度化
- AIの活用による医薬品研究開発支援
- リアルワールドデータの利活用促進（医療情報データベース（MID-NET）を活用した医薬品安全対策の促進）
- PMDAの体制整備

25.2億円（平成30年度23.1億円）

3 医薬品の生産性向上（バイオシミラーを含む）と製造インフラの整備

- 新生産技術に対応した効率的な品質管理等のルール策定
- バイオ医薬品に関する人材の育成とPMDAの体制整備

18.5億円（一部再掲）（平成30年度18.4億円）

4 適正な評価の環境・基盤整備

- 最適使用推進等の各種臨床ガイドラインの整備
- バイオシミラーの科学的評価、品質等の情報発信を含む、バイオシミラーの使用促進

2.5億円（一部再掲）（平成30年度2.8億円）

5 日本発医薬品の国際展開の推進

- 国際規制調和戦略の推進（日本規制の海外展開、途上国への規制トレーニングの提供）
- 医薬品等の国際展開に向けた環境整備のための人材育成

19.5億円（一部再掲）（平成30年度19.3億円）

6 創薬業界の新陳代謝を促すグローバルなベンチャーの創出

- 医療系ベンチャー相談等による規制と開発・評価の連携した支援
- 医療系ベンチャー企業の人材育成、各種機関とのマッチング推進
- ベンチャー創出に向けた金融市場の整備

5.8億円（平成30年度5.8億円）

7 医療用医薬品の流通改善への一層の対応

- 流通改善ガイドラインに基づく取組の推進

1 日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善 ①

- 一人ひとりに最適な最先端のがん治療を、医療保険で受けられるようにする。解析したゲノム情報や臨床情報を集約・管理・利活用を支援する体制を構築し、革新的な医薬品・治療法等の開発を推進する。

がん診療の現状と課題

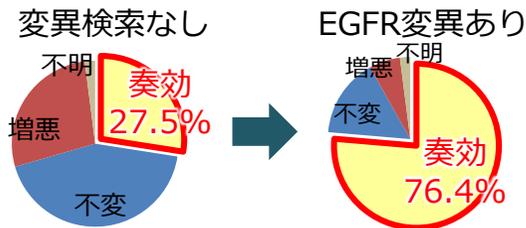
①約2人に1人が、がん罹患

- 2016年 新たながん罹患数は約100万人の見込み
- 1981年以降、「がん」が死因の第一位。

②がんゲノム情報により分子標的薬の奏効率が大幅に上昇

ゲフィチニブ（イレッサ®）

肺腺がんのうち、EGFR※遺伝子変異がある例では奏効率が大幅に上昇。
→無効例への投与が回避。



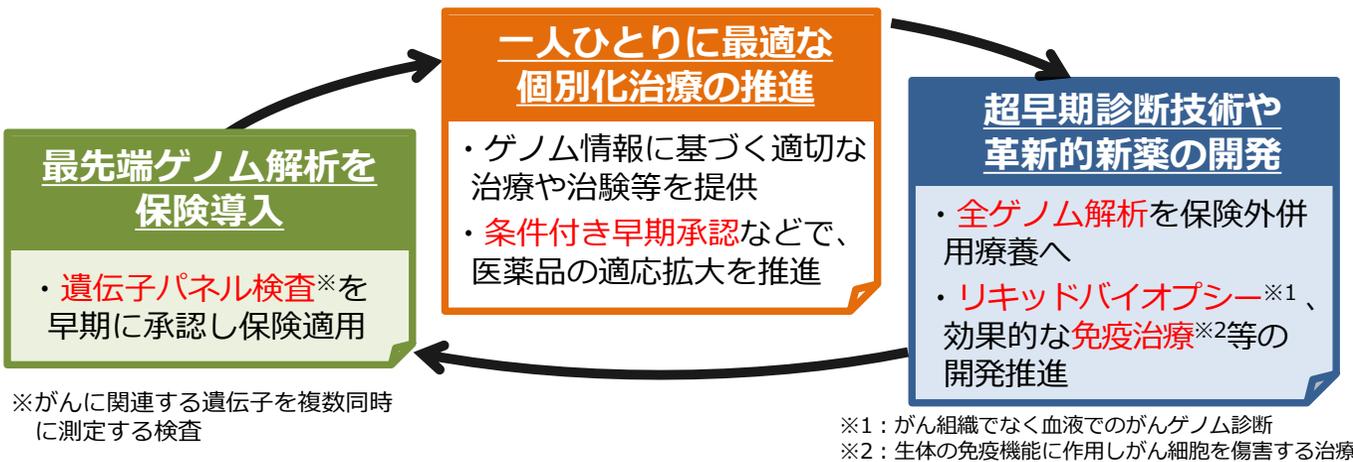
※epidermal growth factor receptor: 上皮成長因子受容体

③ゲノム解析技術の急速な進歩

一人の全ゲノム解析に必要な時間・費用
(2003年) → (2016年)
13年間・30億ドル → 1週間・約1000ドル

がんゲノム医療の戦略的推進

- ゲノム医療の果実を国民・患者に還元。



- 全国の医療機関等が参加し「がんゲノム医療推進コンソーシアム」を構築。



28.9億円

1 日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善 ②

- 臨床ゲノムデータが蓄積されたデータベースの整備や、これらのデータを解析するA Iの研究開発支援を行いつつ、臨床研究等に係る患者向けの情報発信を行い、革新的な医薬品創出のための研究開発環境を整備する。

データベース情報の解析を踏まえた戦略的な革新的シーズ開発の推進

29.9億円

- がん、希少・難治性疾患、感染症、認知症等の疾患領域における臨床ゲノムデータストレージの構築により、疾患毎の臨床ゲノム情報を研究者間でシェアすることで新たな知見を得るとともに、疾患横断的な統合データベースへのデータ提出を担う。
- 得られたがんのデータは「がんゲノム医療推進コンソーシアム」と連携

臨床研究・治験の患者向け公開データベースの整備

0.4億円

- 平成30年4月に施行された臨床研究法に基づき、臨床研究の概要や実施機関、対象疾病等の情報について登録・公表義務付け。患者が参加したい研究を一元的に検索可能とする。
- 治験についても一元的に情報を公開

2 薬事規制改革等を通じたコスト低減と効率性向上 ①

- 革新的医療へのアクセスの向上、創薬の生産性向上、適正使用の推進に配慮し、革新的な医薬品の創成と育成という観点から医薬品の規制を改革する。

「条件付き承認制度」の活用や「先駆け審査指定制度」の制度化

1.1億円

- ・ 疾患の重篤性等も考慮し、高い有用性が期待できる革新的な医薬品の**早期の実用化と開発の道筋を明確化**
- ・ これに沿ったPMDAによる開発支援のための相談の提供などを通じ、開発の効率化と規制の予見性向上

条件付き承認制度

高い有用性が期待
できる革新的医薬品

製造販売後のデータを
最大限活用

探索的
臨床試験

条件付
早期承認

リアルワールドデータ等を活用した製造販売後の有効性・安全性の確認

承認内容の確認
条件解除
適応拡大等

先駆け審査指定制度

世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、**通常の半分の6ヶ月間で承認**）を目指すもの（現在医薬品16品目を指定）

AIの活用による医薬品開発支援

12.6億円の内数

- ・ 医薬品開発へのAIの活用によって、画期的な医薬品の創出、開発期間の短縮や開発費用の低減が期待できるため、医薬品開発をAI活用を進めるべき重点領域に選定
- ・ 製薬企業とIT企業等の107団体（平成31年1月時点）で構成されるコンソーシアムを形成し、製薬企業のニーズに基づくAIをIT企業のリソースを使って開発

2 薬事規制改革等を通じたコスト低減と効率性向上 ②

リアルワールドデータの利活用推進

6.1億円

- 実臨床を反映した電子的な医療情報（リアルワールドデータ）の利活用による、臨床試験、市販後調査の効率化・低コスト化・迅速化
 - PMDAに構築した医療情報データベース（MID-NET）の本格運用を平成30年度より開始。ビッグデータの活用により、医薬品等の安全対策の高度化を推進
 - NC（国立高度専門医療研究センター）等の疾患登録システムのリアルワールドデータについてDBを構築し、薬事での利活用を促進
- （例）ゲノム解析に基づくがん医療（がんゲノム医療）のデータを臨床試験に代替して医薬品開発に活用

規制改革のためのPMDAの審査の質の向上

18.0億円

- 審査ラグ「0」は達成。新たなデータを活用し、革新的医薬品へ対応するため、PMDAを体制強化、審査の質を向上

3 医薬品の生産性向上（バイオシミラーを含む）と製造インフラの整備

- 医薬品の生産技術の革新に呼応して、新たな品質・安全性管理手法を並行して策定し、最新技術の速やかな導入を促進する。

新生産技術に対応した効率的な品質管理等のルール策定

- 連続生産技術等、医薬品の新規生産技術の開発支援
- 新規生産技術を導入した際の効率的な品質管理手法の整備

バイオ医薬品に関する人材の育成とPMDAの体制整備

18.5億円（再掲）

- 産学官の間での人材交流や生物統計家の育成等を通じた、臨床研究の質の確保に資する人材の育成（平成28年度から実施）
- バイオ医薬品の開発促進に向け、バイオ医薬品の製造技術等に関する事業の実施
- バイオ医薬品の生産管理現場でのPMDA審査官の研修実施
（平成30年度中にプログラムを検討し、平成31年度から実施）

0.4億円

新規予算事業のイメージ

厚生労働省



委託



関係学会等

製薬企業やバイオベンチャーの社員等に対して、バイオ医薬品の製造技術、開発ノウハウ等に関する研修を実施



4 適正な評価の環境・基盤整備

- ガイドラインの整備を通じて医薬品の有効かつ安全な使用を確保する。また、バイオシミラーと既存薬の代替性の評価を進め、バイオシミラーの使用を促進する。

最適使用推進等の各種臨床ガイドラインの整備

2.0億円

- 最適使用推進ガイドラインの整備により、革新的な医薬品の適正使用を推進
- 高齢者の医薬品適正使用の指針の整備により、多剤投与の増加など、高齢化の急速な進展による高齢者への薬物療法に伴う課題に対応

バイオシミラーと既存薬の代替性の評価を含む、バイオシミラーの使用促進

0.4億円（再掲）

- バイオシミラーの科学的評価、品質等について、医療従事者に対して、正しい理解を広めるため、専門家や医療関係者等によるセミナーや講習会を開催。併せて、患者・国民に対して、バイオシミラーの科学的評価、品質、価格等に関して、普及を図る。

5 日本発医薬品の国際展開の推進

- 医薬品等の規制に関する国際調和・国際協力を進めつつ、今後の国際展開を見据え日本から専門家の派遣・諸外国からの研修生等の受入れを重疊的に行うことにより、日本企業が国際展開を推進できる環境を整備する。

国際薬事規制調和戦略の推進（国際規制調和、日本規制の理解促進、途上国規制当局への規制トレーニングの提供）

1.5億円

- 「国際薬事規制調和戦略」（平成27年6月厚生労働省策定）に基づき、以下の取組を推進中

- PMDAに「アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター」を設置。アジア主要国での研修を含め、業界団体とも協力しつつ、アジア規制当局の要望のある分野や審査・査察等の能力に応じた効果的なトレーニング機会を提供。日本も、APECの国際共同治験の中核トレーニング施設を整備
- ASEAN主要国と日本の薬事制度の理解促進に向けた交流を推進し、医薬品承認制度において欧米と同等の位置づけを目指すとともに、中国・韓国等と行政レベルでの意見交換を実施



医薬品等の国際展開に向けた環境整備のための人材育成

18.0億円（再掲）

- 海外における日本の医薬品等の利用促進に向けて、政府間で協力覚書の締結、日本からの諸外国への専門家派遣、諸外国の研修生の我が国への受入れを実施
- 人材育成による日本の医療への親和性向上を通じて、我が国の医薬品等の利用につなげる。

6 創薬業界の新陳代謝を促すグローバルなベンチャーの創出

- 厚生労働省と経済産業省が連携し、医療系ベンチャー支援体制を整え、医療系ベンチャーに不足している専門人材や資金の確保に向けて、スピード感を持って具体的な施策を講じていく。

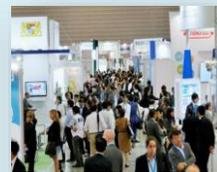
5.8億円

医療系ベンチャー相談等による規制と開発・評価の連携した支援

- 厚生労働省に設置されたベンチャー等支援戦略室が振興施策の企画・実行・モニタリングを実施
- ベンチャー等支援戦略室は、関係部局やPMDA等と連携し、ベンチャー企業等からの様々な相談（**薬事・保険連携相談**）の窓口として機能

医療系ベンチャーの人材育成、各種機関とのマッチング推進

- ベンチャー等からの相談応需や人材支援等の事業「**医療系ベンチャートータルサポート事業**」（MEDISO）を実施
- 大手企業や投資家等のキーパーソンとベンチャーのマッチングイベント「**ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット**」を開催
- ベンチャーの大きな課題である資金確保に資するべく、ベンチャーにおける知財戦略上の問題や、市場規模獲得への障壁等を調査し、よりベンチャーキャピタルが投資しやすい環境を作る。



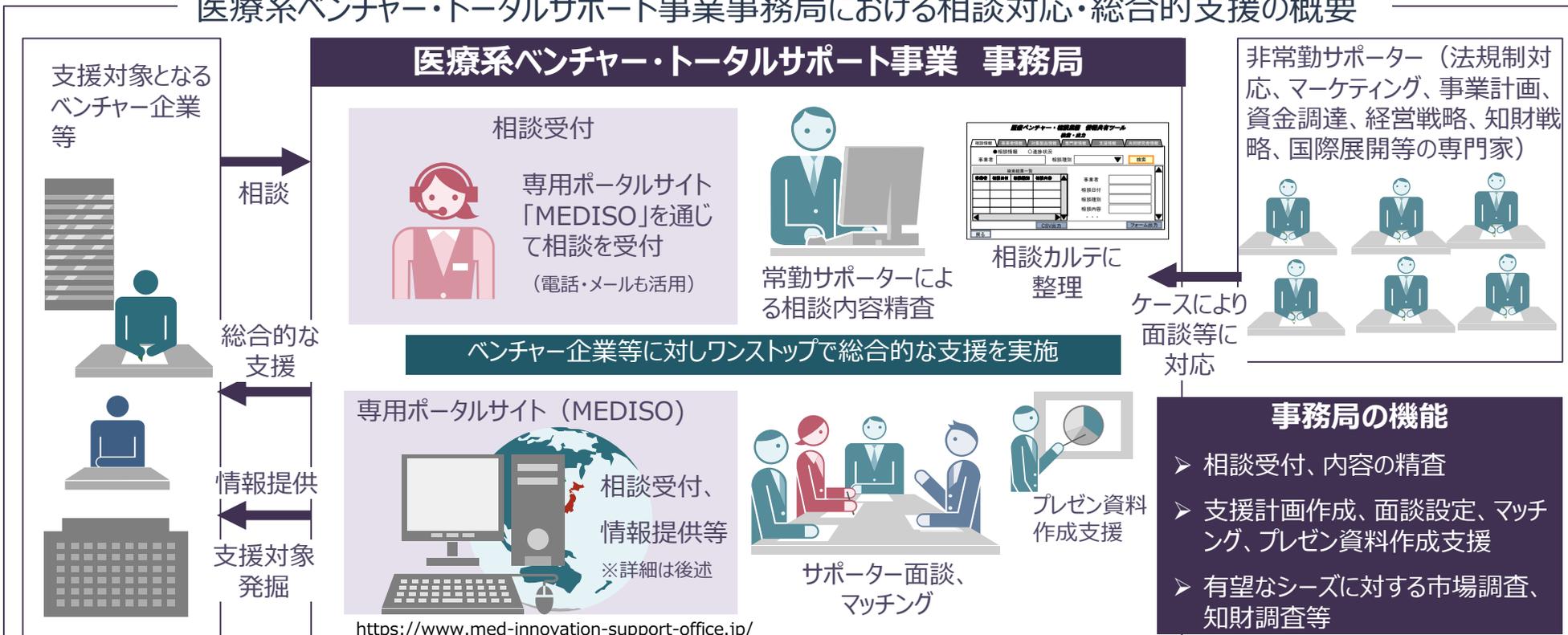
ベンチャー創出に向けた金融市場の整備

- 経済産業省において、平成29年11月より「**バイオベンチャーと投資家の対話促進研究会**」を開催しており、投資家とバイオベンチャーを繋ぐ「**バイオベンチャー投資ガイドス(仮称)**」の策定や上場市場の課題の整理等を目指す。

医療系ベンチャー・トータルサポート事業

- ◆ 医療系ベンチャー企業等にアドバイスを行うメンターとなる人材（以下、サポーターと称する）と各ベンチャー企業のニーズに応じたマッチングの推進は、ベンチャー育成のためのエコシステムの確立に向けて大変重要となる。そのため、多様な分野の専門家を「サポーター」として登録し、医療系ベンチャー企業等からの相談対応・支援体制を構築する。
- ◆ 相談対応窓口となるオフィスを「日本橋ライフサイエンスビルディング」に開設。専用のポータルサイト「MEDISO」を構築し、相談の受付や情報提供などを実施する。相談案件は常勤サポーターが精査した上で、ケースによってサポーター面談設定やマッチング、支援計画作成、VC等へのプレゼン資料作成支援等、あらゆる相談に対してワンストップで支援。フォローアップも行う。

医療系ベンチャー・トータルサポート事業事務局における相談対応・総合的支援の概要



医療機器開発支援ネットワーク（MEDIC）、医療系ベンチャー振興推進会議等と連携

医療系ベンチャーサミットの開催について

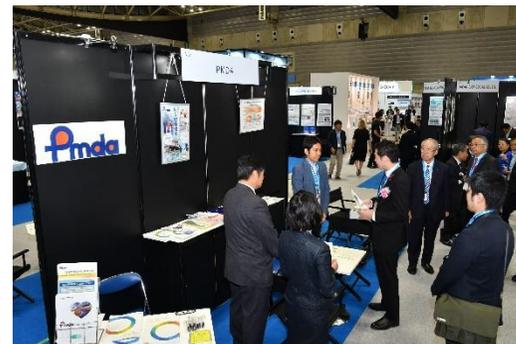
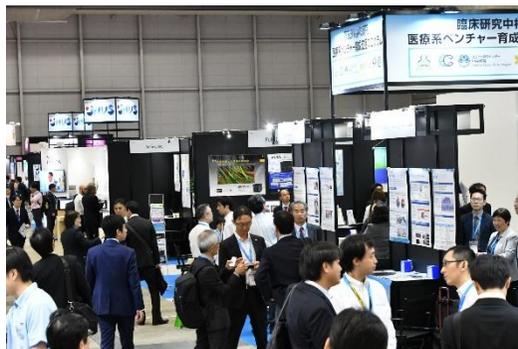
- 課題**
- ・ベンチャー振興において、エコシステム(好循環)の形成はもっとも重要な課題。
 - ・特に医療系ベンチャーにとっては、大手製薬・医療機器企業等の事業・開発のパートナーを獲得することは死活問題。
 - ・しかし、日本の現状では、医療系ベンチャーに関わる人的ネットワークが分散しているという課題がある。

- 対応**
- ・大手企業、金融機関、研究機関、医療機関等のキーパーソンとベンチャーのマッチングに資するイベント「**ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット**」を開催する。

昨年度は、「**ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2018**」を10月10日(水)～12日(金)にパシフィコ横浜にて開催。

ベンチャー企業、アカデミア等による**出展(80ブース、105団体)**や**シンポジウム、ミートアップ**などのイベントを実施。

同時開催の「**Bio Japan2018**」「**再生医療ジャパン2018**」と合わせて、3日間で**延べ16,039人が来場**。



7 医療用医薬品の流通改善への一層の対応

- 一次売差マイナス・単品単価取引の促進等、これまで流通改善の課題とされていた事項について、関係者が取り組むガイドラインを作成し、遵守を求めていく。

現状と課題

- 未妥結減算制度の導入により未妥結・仮納入の改善は一定程度見られるものの、一次売差マイナスの解消や単品単価取引の推進については、進んでいない状況にある。

妥結率

平成24年9月 平成29年9月
43.5% ▶ **97.7%**

※出典 厚生労働省調査

一次売差

平成24年度 平成29年度
-2.4% ▶ **-3.7%**

※出典 5大卸売業者調べ

単品単価取引

平成24年度		平成29年度	
200以上の病院	調剤薬局チェーン	200以上の病院	調剤薬局チェーン
61.4%	62.2%	56.2%	62.3%

※出典 5大卸売業者調べ

流通改善ガイドラインの周知

- 流通改善の取組を加速するため、流通関係者が取り組むべきガイドラインを発出（平成30年1月23日）し、遵守を求めていく。

医療用医薬品流通関係者が留意する事項

- 医療用医薬品製造販売業者と卸売業者との関係において留意する事項
 - ・ 一次売差マイナスの解消に向けた適正な最終原価の設定
- 卸売業者と医療機関等との関係において留意する事項
 - ・ 早期妥結と単品単価契約の推進
 - ・ 医薬品の価値を無視した過大な値引き交渉の是正
- 流通当事者間で共通して留意する事項
 - ・ 返品条件について事前に当事者間で契約を締結
- 流通の効率化と安全性の確保
 - ・ 頻回配送・急配等について当事者間で契約を締結

実効性確保のための取組

- 厚生労働省の関与
 - ・ 相談窓口を設置し、流改懇に報告等を行う。
 - ・ 特に安定的な医薬品流通に悪影響を及ぼすような事案については、ヒアリング等を行う。

保険制度上の措置

- 本ガイドラインの趣旨・内容を「未妥結減算制度」に取り入れ、妥結率等に係る報告書に「単品単価契約率」と「一律値引き契約の状況」を追加。

試験研究を行った場合の法人税額等の特別控除（研究開発税制）の延長・拡充

（所得税、法人税、法人住民税）

1. 大綱の概要

研究開発税制について、次の見直しを行う。

2. 見直しの内容

【控除額】

- 法人税額から試験研究費の一部を控除できる制度
- **法人税額の最大40%→最大45%（スタートアップベンチャーは最大60%）**

【控除上限】

【A'】 上乗せ措置 (時限措置)

- ① **総額型の控除上限の上乗せ措置を2年間延長**
(※) 売上高に対する試験研究費割合が10%を超える場合、控除上限を最大10%上乗せできる仕組み
- ② **高水準型を総額型に統合**（2年間の時限、A②参照）

（総額型の控除上限の上乗せ措置）

・上乗せできる割合 = (試験研究費割合 - 10%) × 2

試験研究費割合	11%	12%	13%	14%	15%
上乗せ分	2%	4%	6%	8%	10%

A' : 10%
(上乗せ)

本体（恒久措置）

【A 総額型】控除額 = 試験研究費の総額 × 6～14%

- ① **控除率**について、試験研究費の**増加インセンティブを強化**
- ② **試験研究費割合が10%を超える企業**について、**控除率を上乗せする仕組みの創設【2年間時限】**
- ③ **スタートアップベンチャー企業**（※）について、**控除上限を40%（現行25%）に引上げ**
(※) 設立後10年以内の法人のうち、当期において翌期繰越欠損金額を有するもの

（総額型の見直し（①）と新たな上乗せ措置（②））
試験研究費割合に応じて控除率を上乗せ（上乗せ後も最大値は14%）
・追加控除率 = 総額型の控除率 × (試験研究費割合 - 10%) × 0.5



A : 25%
(40%)

【B オープンイノベーション型】控除額 = 特別試験研究費の額 × 20～30% (※) 大企業への委託研究の要件

- ① **大企業に対する委託研究**（※）を対象に追加（控除率20%）
- ② **研究開発型ベンチャー企業との共同・委託研究**について、**控除率を25%（現行20%）に引上げ**
- ③ **控除上限を10%（現行5%）に引上げ**
- ④ 薬機法改正を前提に、**特定用途医薬品等**に関する試験研究を対象に追加
- ⑤ **大学等との共同研究**について、研究開発の**プロジェクトマネジメント業務等を担う者の人件費の適用**を明確化

- 委託に基づき行う業務が、**受託者において試験研究に該当**すること
- 委任契約等において、成果を委託法人が取得することとしていること
- 委託する試験研究が**基礎研究又は応用研究に該当**するか、**受託者の知的財産等を利用**するものであること
- 委任契約等において、試験研究の種類等一定の事項が定められていること

B : 5%→10%

セルフメディケーション（自主服薬）推進のためのスイッチOTC薬控除（医療費控除の特例）の創設

（所得税、個人住民税）

1. 大綱の概要

適切な健康管理の下で医療用医薬品からの代替を進める観点から、**健康の維持増進及び疾病の予防への取組として一定の取組（※1）を行う個人が、平成29（2017）年1月1日から令和3（2021）年12月31日までの間に、自己又は自己と生計を一にする配偶者その他の親族に係る一定のスイッチOTC医薬品（※2）の購入の対価を支払った場合**において、その年中に支払ったその対価の額の合計額が**1万2千円を超えるときは**、その超える部分の金額（その金額が8万8千円を超える場合には、8万8千円）について、その年分の**総所得金額等から控除する**。

（※1） 特定健康診査、予防接種、定期健康診断、健康診査、がん検診

（※2） 要指導医薬品及び一般用医薬品のうち、医療用から転用された医薬品（類似の医療用医薬品が医療保険給付の対象外のものを除く。）

（注） 本特例の適用を受ける場合には、現行の医療費控除の適用を受けることができない。

※セルフメディケーションは、世界保健機関（WHO）において、「自分自身の健康に責任を持ち、軽度な身体の不調は自分で手当てすること」と定義されている。

2. 制度の内容

■対象となる医薬品（医療用から転用された医薬品：スイッチOTC医薬品）について

○ スイッチOTC医薬品の成分数：86（平成31年4月15日時点）

－ 対象となる医薬品の薬効の例：かぜ薬、胃腸薬、鼻炎用内服薬、水虫・たむし用薬、肩こり・腰痛・関節痛の貼付薬

（注） 上記薬効の医薬品の全てが対象となるわけではない

本特例措置を利用する時のイメージ

○ 課税所得400万円の者が、対象医薬品を年間20,000円購入した場合（生計を一にする配偶者その他の親族の分も含む）

20,000円
（対象医薬品の購入金額）

12,000円
（下限額）

○ 8,000円が課税所得から控除される

（対象医薬品の購入金額：20,000円－下限額：12,000円＝8,000円）

○ 減税額

・所得税：1,600円の減税効果（控除額：8,000円×所得税率：20%＝1,600円）

・個人住民税：800円の減税効果（控除額：8,000円×個人住民税率：10%＝800円）

4. 薬機法改正について

《施策の基本理念》

- 1 優れた医薬品、医療機器等の安全・迅速・効率的な提供
- 2 住み慣れた地域で安心して医薬品を使用できる環境整備

開発から市販後までの規制の合理化

➤ 審査の迅速化（審査ラグはほぼ解消）



➤ 環境変化

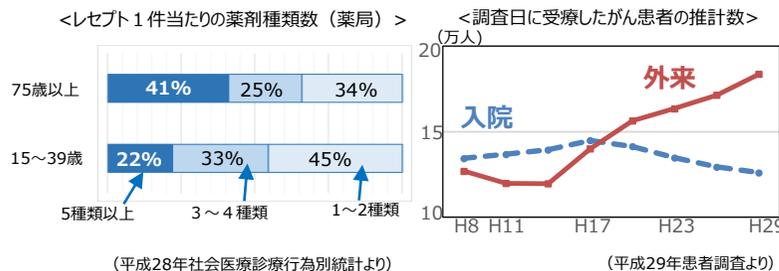
技術進展 → 革新的医薬品等の早期実用化
 グローバル化の進展 → 企業が有利な開発拠点を選択

➤ 医療上の必要性が高いにもかかわらず、開発が進みにくい医薬品等の存在

薬剤師・薬局のあり方見直し

➤ 地域医療における薬物療法の重要性

- ・高齢化の進展による多剤投与とその副作用の懸念の高まり
- ・外来で治療を受けるがん患者の増加



➤ 医薬分業の効果を患者が実感できていないという指摘

過去の違法行為等への対応

➤ 違法行為等の発生

- ・承認書と異なる製造方法による医薬品の製造販売事案
- ・虚偽・誇大広告事案
- ・医療用医薬品の偽造品の流通事案
- ・虚偽の申請により受けた薬監証明に基づく未承認医療機器の輸入事案
- ・同一開設者の開設する薬局間における処方箋の付け替え事案

現状

- #### ➤ 必要な医薬品等への患者アクセスの一層の迅速化
- ・予見可能性・効率性・国際整合性が高く、合理的な制度構築
 - ・安全対策の充実・合理化

- #### ➤ 在宅で患者を支える薬剤師・薬局の機能の強化
- #### ➤ 薬局と医療提供施設等との情報共有・連携強化
- #### ➤ 患者が自分に適した薬局を選ぶための仕組み

➤ 再発防止策の整備・実施

- #### ➤ 予見可能性等の高い合理的な承認制度の導入
- ・「先駆け審査指定制度」「条件付き早期承認制度」の法制化、開発を促進する必要性が高い小児の用法用量設定等に対する優先審査等
 - ・AI等、継続的な性能改善に適切に対応するための新たな医療機器承認制度の導入

- #### ➤ 薬剤師・薬局機能の強化 – 対人業務の充実 –
- ・薬剤師に対し、必要に応じ、調剤した後の服薬状況の把握・服薬指導を義務づけ
 - ・服薬状況に関する情報を他医療提供機関に提供（努力義務）
- #### ➤ 特定の機能を有する薬局の認定・表示制度の導入
- ・地域連携薬局：地域包括ケアシステムの一員として、住み慣れた地域での患者の服薬等を支援する薬局
 - ・専門医療機関連携薬局：がん等の治療を行う専門医療機関と連携し、専門的な薬学管理を行う薬局

- ・許可等業者に対する法令遵守体制の整備等の義務づけ
- ・虚偽・誇大広告による医薬品等の販売に対する課徴金制度の創設
- ・薬監証明制度の法制化及び取締りの強化

課題

主な対策（改正法案概要）

- #### ➤ 安全対策の充実・合理化
- ・添付文書の電子的提供を原則化
 - ・医薬品等のバーコード表示の義務づけ

「審査指定制度(希少疾病用・先駆的・特定用途)」と「条件付き早期承認制度」

医療上特に必要性が高い医薬品等

厚生労働大臣の個別指定（薬事・食品衛生審議会の意見聴取が必要）

希少疾病用医薬品等

先駆的医薬品等

今回で法制化

特定用途医薬品等

今回で法制化

その他（指定なし）

- 患者数が少ない等のため検証的臨床試験の実施が困難又は長期間を要するものについて、製造販売後の有効性・安全性の再確認等のために必要な調査の実施、適正使用確保措置等を条件とした承認が可能。
- 製造販売後の調査等の結果は速やかに評価し、必要に応じて条件変更や安全対策等の実施を命令

（条件付き早期承認）

今回で法制化

（各審査指定制度の要件等）

	主な要件	効果
希少疾病用医薬品等	本邦における対象患者が5万人未満又は指定難病に対する医薬品等	優先審査(12→9か月) 助成金、税制上の措置、再審査期間延長(最大10年)
先駆的医薬品等	以下のいずれも満たす医薬品等 ・国内外で承認を与えられている製品と作用機序等が明らかに異なる ・その用途に関し特に優れた使用価値を有する	優先審査(12→6か月) PMDAによる相談事業の優先対応・事前評価の実施・開発支援
特定用途医薬品等	以下のいずれも満たす医薬品等 ・小児用法用量が設定されていない医薬品など特定の用途に属する ・その用途に対するニーズが著しく充足されていない ・その用途に関して特に優れた使用価値を有する	優先審査(12→9か月) 助成金、税制上の措置

（条件付早期承認制度の適用例）

- 1) 患者の集積が困難で有効性の評価に長期間を要するため、短期間での検証的臨床試験の実施が困難な場合
例) 希少がん、筋ジストロフィーに用いる医薬品等
- 2) 倫理的な問題等で検証的臨床試験の実施が困難な場合
例) 救急救命に用いる医薬品等

* 具体的な運用方法についての通知の策定・公表、個別の適用についての薬事・食品衛生審議会への報告、審査報告書の公開等により、透明性を高めた運用を行う。

医療機器の特性に応じた承認制度の導入

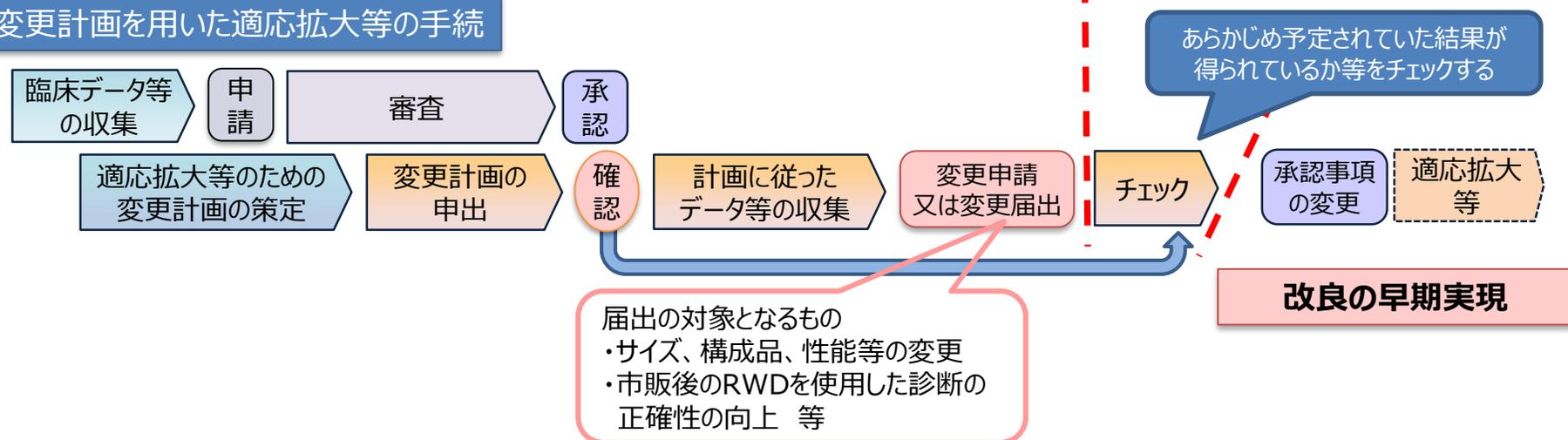
- 改良が見込まれている医療機器※について、変更計画を審査の過程で確認し、計画された範囲の中で迅速な承認事項の一部変更を認めることにより、継続した改良を可能とする承認審査制度を導入。

※AIを活用した医療機器のように市販後に恒常的に性能等が変化する医療機器、市販後に収集されるリアルワールドデータ（RWD：実臨床によるデータ）を利用した医療機器の改良、使用性向上のためのオプション部品等の追加等

現状の適応拡大等の手続



変更計画を用いた適応拡大等の手続

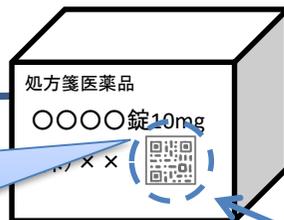


添付文書情報の電子的な方法による提供

- 添付文書の製品への同梱を廃止し、電子的な方法による提供を基本とする。
- 電子的な提供方法に加えて、製造販売業者の責任において、必要に応じて卸売販売業者の協力の下、医薬品・医療機器等の初回納品時に紙媒体による提供を行うものとする。また、最新の添付文書情報へアクセスを可能とする情報を製品の外箱に表示し、情報が改訂された場合には紙媒体などにより医療機関・薬局等に確実に届ける仕組みを構築する。
- 一般用医薬品等の消費者が直接購入する製品は、使用時に添付文書情報の内容を直ちに確認できる状態を確保する必要があるため、現行のまま紙媒体を同梱する。

電子的な情報提供

製造販売業者：
・外箱等に添付文書情報へアクセスできるQRコード等を表示
・紙媒体の提供も併用
(添付文書の同梱は不要)



製造販売業者：
最新の添付文書情報が掲載されたHPを準備

医療機関・薬局：
QRコード等を通じた最新の添付文書情報の入手

製造販売業者（必要に応じて卸売販売業者が協力）：
1) 初回納品時、医療機関・薬局に赴く際に、添付文書の紙媒体を提供
2) 改訂時は、紙媒体の提供等を通じて、改訂後の情報を医療機関・薬局に速やかに提供



医療機関・薬局

紙媒体の提供の併用

医薬情報担当者等



医薬品・医療機器等へのバーコードの表示

- 医療安全の確保の観点から、製造、流通から、医療現場に至るまでの一連において、医薬品・医療機器等の情報の管理、使用記録の追跡、取り違えの防止などバーコードの活用によるトレーサビリティ等の向上が重要である。このような取組による安全対策を推進するため、医薬品・医療機器等の直接の容器・被包や小売用包装に、国際的な標準化規格に基づくバーコードの表示を義務化する。
- バーコード表示を求めるに当たっては、医薬品・医療機器等の種類や特性に応じた効率的・段階的な対応や一般用医薬品などを含めた現状のコード規格の普及状況などを考慮する。
- バーコード表示の義務化と合わせて製品情報のデータベース登録などを製造販売業者に求めるとともに、医療現場などにおけるバーコードを活用した安全対策の取組を推進していく。

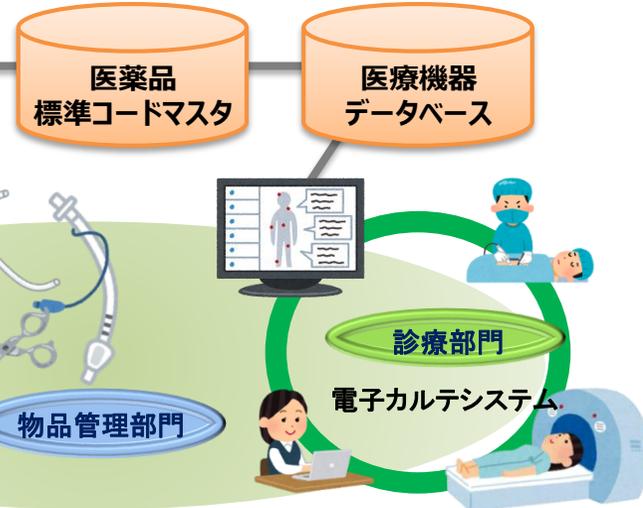
<医薬品・医療機器等にGS1規格バーコードを表示>

<データベースに製品情報を登録>

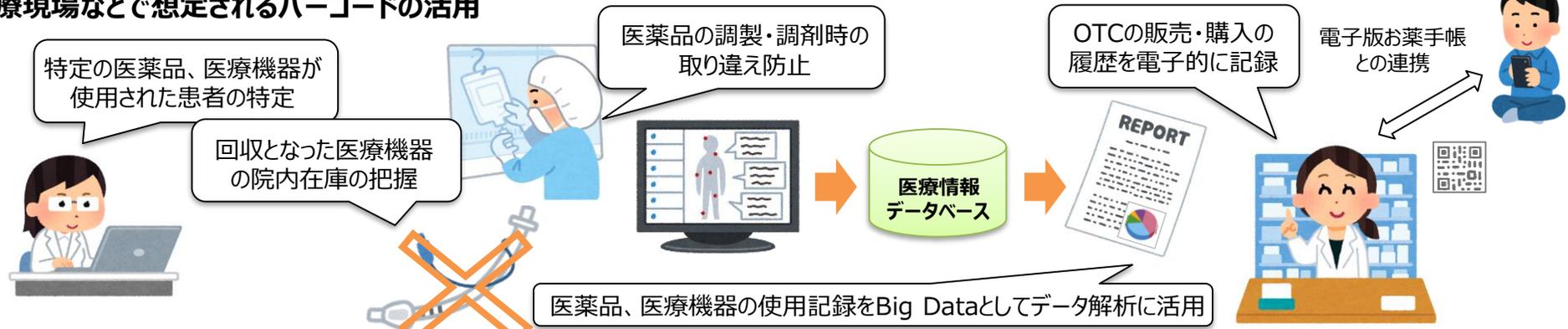


医療用医薬品の場合、商品コードは100%表示済み。
有効期限、ロット番号については、原則、平成33年4月までに表示。

物流・医療現場でバーコードを活用



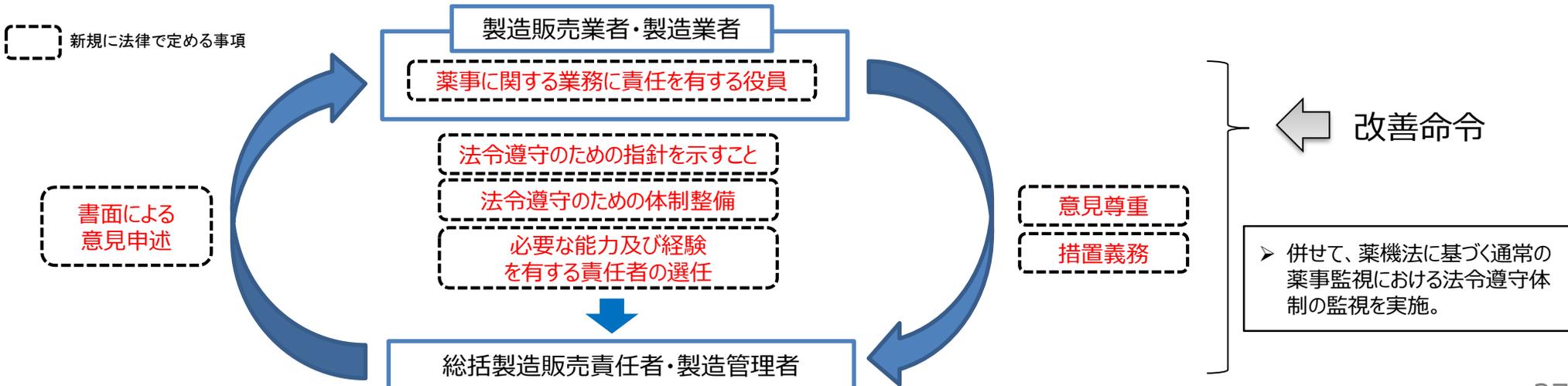
医療現場などで想定されるバーコードの活用



製造販売業者・製造業者における法令遵守体制の整備

※ 薬局、販売業等についても同様の仕組みを措置

- 製造販売業者・製造業者の法令遵守に責任を有する者を明確にするため、薬事に関する業務に責任を有する役員（責任役員）を法律上位置づけ、許可申請書に記載することとする。
- 製造販売業者・製造業者の遵守事項として、以下を規定する。
 - 従業者に対して法令遵守のための指針を示すこと
 - 法令遵守上の問題点を把握し解決のための措置を行うことができる体制を含めた、法令遵守のための体制（※）を整備すること
（※）法令を遵守して業務を行うための社内規程の整備や教育訓練等について規定する予定
- 上記の法令遵守のための体制整備に係る改善命令
- 許可業者の業務が法令を遵守して適正に行われるために、必要な能力及び経験を有する総括製造販売責任者・製造管理者を選任すること
- 総括製造販売責任者・製造管理者により述べられた意見を尊重し、法令遵守のために措置を講じる必要があるときは、当該措置を講じること
- 総括製造販売責任者・製造管理者による、製造販売業者・製造業者に対する意見申述義務を法律上規定する。



※医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器、体外診断用医薬品及び再生医療等製品の製造販売業者及び製造業者について、同様の改正を行う。

虚偽・誇大広告による医薬品、医療機器等の販売に係る課徴金制度

制度導入の趣旨

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律で禁止している医薬品、医療機器等の虚偽・誇大広告に関し、虚偽・誇大広告の販売で得た経済的利得を徴収し、違反行為者がそれを保持し得ないようにすることによって違反行為の抑止を図り、規制の実効性を確保するための措置として、課徴金制度を導入する。

制度案の骨子

- ① **対象行為**: 医薬品、医療機器等の名称、製造方法、効能、効果又は性能に関する虚偽・誇大な広告
- ② **課徴金額**: 違反を行っていた期間中における対象商品の売上額 × 4.5%^(注)
- ③ **賦課**: 対象行為に対しては課徴金納付命令をしなければならない。
 - ・ 業務改善命令等の処分をする場合で保健衛生上の危害の発生・拡大への影響が軽微であるとき等には、課徴金納付命令をしないことができる
 - ・ 課徴金額が225万円(対象品目の売上げ5000万円)未満の場合は、課徴金納付命令は行わない
- ④ **減額**: 以下の場合に課徴金額を減額
 - ・ 同一事案に対して、不当景品類及び不当表示防止法の課徴金納付命令がある場合は、売上額 × 3% (※ 景表法の課徴金算定率) を控除
 - ・ 課徴金対象行為に該当する事実を、事案発覚前に違反者が自主的に報告したときは50%の減額
- ⑤ **その他**: 虚偽・誇大広告を行った事業者に対して、訂正広告等の必要な措置を命じる措置命令も併せて導入する

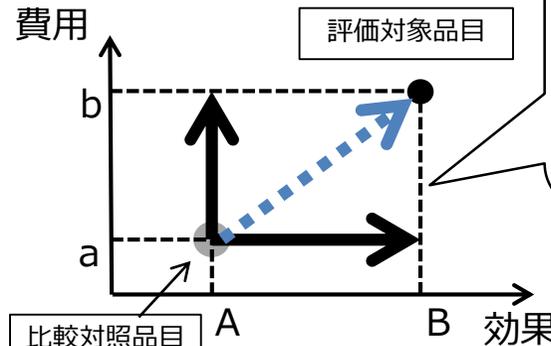
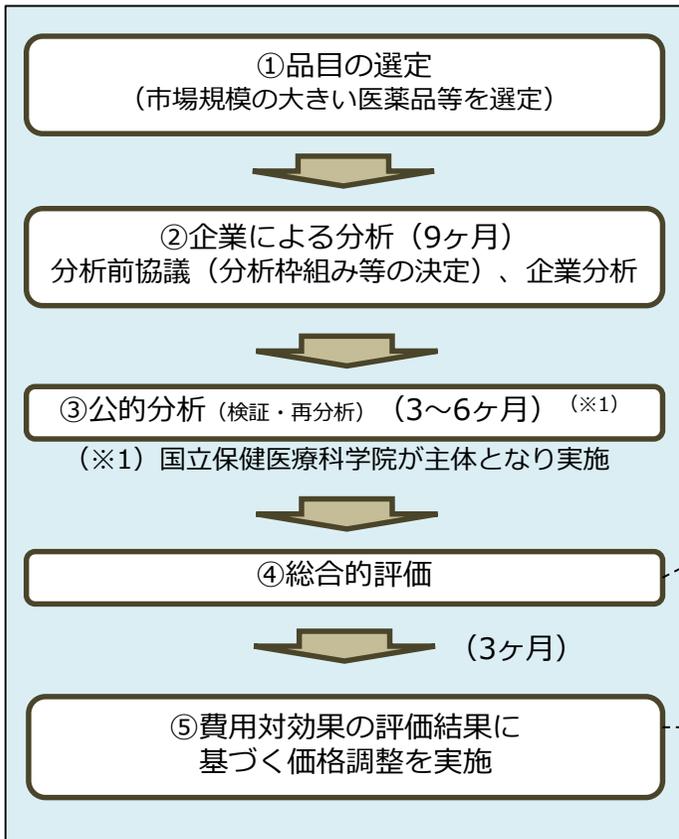
(注)過去の虚偽・誇大広告違反の事例を踏まえれば、対象となる虚偽・誇大広告違反は主として医薬品・医療機器の製造販売業者により行われることが想定される。このため、医薬品・医療機器製造販売業者の売上高営業利益率を参考に、算定率を設定した。

5. 薬価制度改革について

費用対効果評価制度について（概要）

- 費用対効果評価制度については、中央社会保険医療協議会での議論を踏まえ、2019年4月から運用を開始。
- 市場規模が大きい、又は著しく単価が高い医薬品・医療機器を評価の対象とする。ただし、治療方法が十分に存在しない稀少疾患（指定難病等）や小児のみに用いられる品目は対象外とする。
- 評価結果は保険償還の可否の判断に用いるのではなく、いったん保険収載したうえで価格調整に用いる（薬価制度の補完）。
- 今後、体制の充実を図るとともに事例を集積し、制度のあり方や活用方法について検討する。

【費用対効果評価の手順】



評価対象品目が、既存の比較対照品目と比較して、費用、効果がどれだけ増加するかを分析。

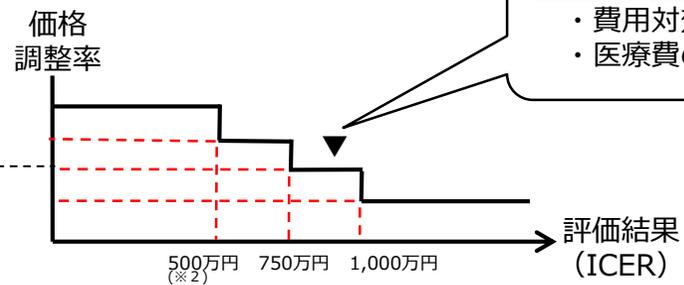
増分費用効果比 = $\frac{b-a \text{ (費用がどのくらい増加するか)}}{B-A \text{ (効果がどのくらい増加するか)}}$ (ICER)

健康な状態での1年間の生存を延長するために必要な費用を算出。

総合的評価にあたっては、希少な疾患や小児、抗がん剤等の、配慮が必要な要素も考慮(※2)

評価結果に応じて対象品目の価格を調整(※3)

- ・費用対効果の悪い品目は価格を引下げ
- ・医療費の減少につながる品目等は価格を引上げ



(※2) 抗がん剤等については、通常よりも高い基準 (750万円/QALY) を用いる。
(※3) 価格調整範囲は有用性系加算等

(注) カッコ内の期間は、標準的な期間

次期薬価制度改革の検討スケジュール

薬価算定組織の意見
(6月24日)

関係団体ヒアリング
(7月24日)

9月11日

- **薬価算定方式の妥当性・正確性の向上**
(新薬創出等加算対象品目を比較薬とする場合の薬価算定、再生医療等製品の価格算定、配合剤)
- **イノベーションの評価**
(効能追加等による革新性・有用性の評価)
(真の臨床的有用性の検証に係る評価)

9月25日

- **長期収載品の段階的引下げまでの期間の在り方**

10月9日

- **新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度**
(企業要件・企業指標、品目要件)
- **後発医薬品の薬価の在り方**

10月23日

- **薬価算定方式の妥当性・正確性の向上**
(原価計算方式、類似薬効比較方式)
- **イノベーションの評価**
(高齢者での有用性等)
- **後発バイオ医薬品の取扱い**

11月8日

- **基礎的医薬品への対応の在り方**
- **再算定**
(市場拡大再算定等)
- **2020年度改定における実勢価の反映**

関係団体ヒアリング
(11～12月)

骨子とりまとめ
(12月)

6. その他医薬品産業関係

製薬協からの各要望に対する取組状況について (2019年11月時点)

要望事項	取組状況等 (各省の取組、各省と製薬協との連携等)
<p>1. がんゲノム医療情報の集約・管理・利活用推進を図る「がんゲノム情報管理センター (C-CAT)」と連携し、既存薬のターゲットとなっていない遺伝子について、創薬の可能性を検討</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 「がんゲノム情報管理センター (C-CAT)」に集積している質の高いゲノム情報と臨床情報を、創薬等において活用できる体制整備に向けて検討中。なお、C-CATから医療機関に提供するC-CAT調査結果に、新たに開発された薬の治験情報を盛り込むことが可能。 ○ がんゲノム医療情報の集約・管理・利活用の体制についても検討事項とする「がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議」に、製薬協側も構成員として参画。
<p>2. 国立高度専門医療研究センター (NC)が保有する臨床検体及び新たに採取する臨床検体を用いて、ゲノム解析等を実施。当該解析データと臨床情報が連結したデータベースを構築し、創薬研究に活用</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 参画意向のある複数企業間で協議し、対象領域を精神・神経と免疫炎症に決定。NCと研究内容を協議し、具体的な対象疾患、必要例数、解析項目等を検討中。
<p>3. 東北メディカル・メガバンク機構 (ToMMo) のバイオバンクデータの内、特に健常状態のデータも疾患発症後のデータもある症例において、全ゲノム解析等の詳細な追跡調査を実施</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ ToMMoと製薬協とで2019年5月に守秘義務契約を締結。小規模・短期間のパイロット研究を実施し、その後、本研究を実施する予定。パイロット研究は2019年度内の実施を目指し、ToMMoと本事業に参画意思のある複数の企業間とで研究内容を協議中。
<p>4. 認知症の先制医療確立に向けて、アルツハイマー病の発症前段階を対象としたコホートの構築及びコホート研究を実施</p> <p>また、海外コホートと連携の上、上記コホートを活用して、予防的介入試験を実施</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ アルツハイマー病の発症前段階を対象としたコホートの構築を目指した研究をAMEDの研究事業において、本年度より開始したところ。次年度からの本格構築に向けて予算措置含めて検討中。 ○ 上記研究における産官学連携 (予防的介入試験の実施)について、関係者間で調整中。

製薬協からの各要望に対する取組状況について (2019年11月時点)

要望事項	取組状況等 (各省の取組、各省と製薬協との連携等)
<p>5. 企業が積極的に提案し、対照群データ等の企業活用が進むような疾患レジストリ (データベース) を構築</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 企業二ーズを踏まえて既存レジストリを改修し研究に活用中 (AMED研究)。医薬品の有効性等の評価におけるレジストリデータ利活用に関するAMED研究班に製薬協も参画。 ○ PMDAでは、レジストリデータを承認申請に利活用するため、本年4月より試行的な相談制度を構築し、基本的な考え方を示すガイドラインの策定に取り組んでいる。
<p>6. 産学官一体となって新たなモダリティ技術を開発し、共有できる体制を構築</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 製薬協加盟企業で共同開発・共有するモダリティを決定。複数企業でコンソーシアムを設立、知財情報含む関連情報の整理・データベース構築を行い、新たな基盤技術の確立を目指している。 ○ AMEDの研究事業において、産学官の連携の下、商用化に向けた高品質な遺伝子治療薬を大量に製造する技術開発を実施中。
<p>7. クライオ電子顕微鏡の効率的運用体制を産学官で構築</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ AMEDと企業二ーズを踏まえた利用体制構築を検討中。 ○ 既存のクライオ電子顕微鏡の企業利用推進のため、トライアルユース枠が設定された。
<p>8. 複数企業から提供された物性・毒性情報に基づき低分子化合物のデータベースを構築。同データベースを活用して、薬物動態、毒性、活性等の予測に基づいて創薬研究を効率化するAIを開発</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 製薬企業提供の物性・毒性情報も含むデータベースを構築中。 ○ 令和2年度からAMEDの研究事業において、活性等の情報も含んだデータベースを構築し、それを活用した創薬支援のためのAIの開発を進めるため、関係者間で検討中。

プッシュ型インセンティブ AMEDによる研究支援

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

国内外の様々な感染症に対する研究

国内



① 感染症サーベイランス、病原体データベース、感染拡大防止策等の総合的な対策に資する研究

- 病原体流行予測など、感染症対策に資する数理モデルの開発
- 病原体ゲノムデータベースの構築およびその活用

② ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究

- ジカウイルスワクチンなどの開発・実用化
- マイクロニードル技術を用いた新しいワクチン接種法の開発

海外

海外研究機関との連携

総合的な感染症対策の強化

③ 新興・再興感染症の検査・診断体制の確保に資する研究

- 「診療・検査ネットワーク構築」「医療従事者の診断・検査技術の向上」に係るデータ収集、解析等

⑤ 新興・再興感染症に対する国際ネットワーク構築に資する研究

- 国際的なラボネットワーク構築促進と共同研究体制の強化
- 国内への流入・発生に備えた感染症の実態把握・情報収集

④ 感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究

- 重症呼吸器感染症の迅速診断法等の開発
- 新規抗菌薬など、新規治療薬の開発

プッシュ型・プル型インセンティブ 概要と現状

<プッシュ型・プル型インセンティブ>

プッシュ型インセンティブ	研究支援補助金、研究開発費に対する税制優遇等の研究開発に直接関わるインセンティブ
プル型インセンティブ	市場後の薬価の優遇、薬価の事前審査、新薬の買い取り保証、市場参入報奨金、独占期間の優遇や他の製品への移転の許可等の研究開発を進めるモチベーションを高めるインセンティブ

<国内外におけるプル型インセンティブの導入例>

米国	Generating Antibiotics Incentives Now (GAIN法): 新規抗菌薬に対して独占期間を一定程度延長する制度。2012年から開始された。
英国	サブスクリプション型インセンティブ: 研究開発後期あるいは研究開発直後(市場に出回る直前)の2剤を選択し、その薬剤を開発した企業に対して一定額を一定期間支払う仕組み。2019年6月から試験的に開始された。
日本	画期的な医薬品等に対する薬価の優遇や優先審査制度が導入されている。

補正加算

画期性加算（70～120%）

次の要件を**全て満たす**新規収載品

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること。
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること。
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること。

有用性加算（Ⅰ）（35～60%）

画期性加算の**3要件のうち2つの要件を満たす**新規収載品

有用性加算（Ⅱ）（5～30%）

次の**いずれかの要件を満たす**新規収載品

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること。
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること。
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること。
- ニ 製剤における工夫により、類似薬又は既存治療に比して、高い医療上の有用性を有することが、客観的に示されていること。

複数の補正加算に該当する場合

$$\text{加算額} = \text{算定値} \times (a1 + a2 + \dots)$$

市場性加算（Ⅰ）（10～20%）

次の要件を全て満たす新規収載品

- イ 希少疾病用医薬品であって、対象となる疾病又は負傷に係る効能及び効果が当該新規収載品の主たる効能及び効果であること。
- ロ 当該新規収載品の比較薬が市場性加算（Ⅰ）の適用を受けていないこと

市場性加算（Ⅱ）（5%）

次の要件を全て満たす新規収載品

- イ 当該新規収載品の主たる効能及び効果が、市場規模が小さいものとして別に定める薬効に該当すること。
- ロ 当該新規収載品の比較薬が市場性加算（Ⅰ）又は市場性加算（Ⅱ）の適用を受けていないこと

小児加算（5～20%）

次の要件を全て満たす新規収載品。但し、国内で小児効能に係る臨床試験を実施していない場合等は除く。

- イ 当該新規収載品の主たる効能及び効果又は当該効能及び効果に係る用法及び用量に小児（幼児、乳児、新生児及び低出生体重児を含む。）に係るものが明示的に含まれていること。
- ロ 当該新規収載品の比較薬が小児加算の適用を受けていないこと。

（注）市場性加算（Ⅱ）にも該当する場合は、小児加算を優先。

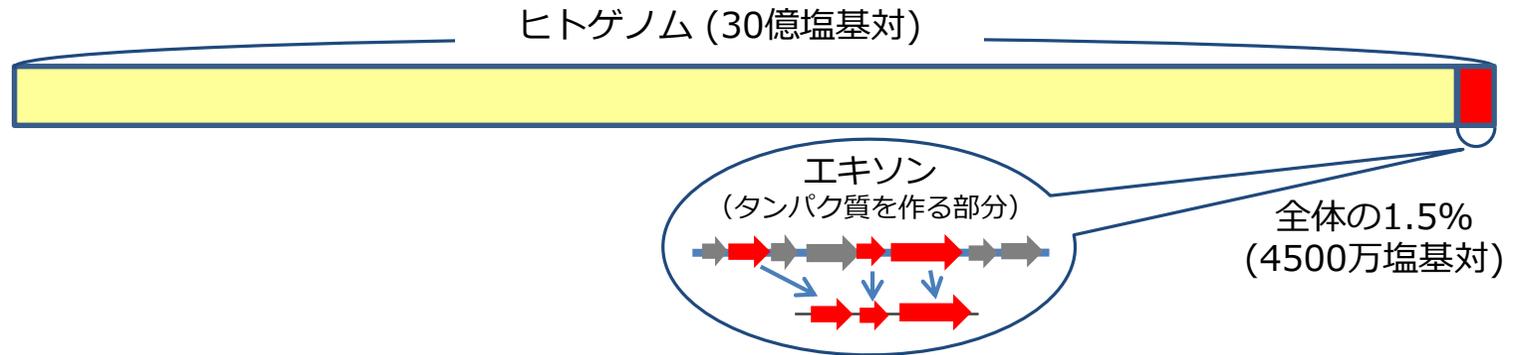
先駆け審査指定制度加算（10～20%）

先駆け審査指定制度の対象品目として指定されたもの。

+

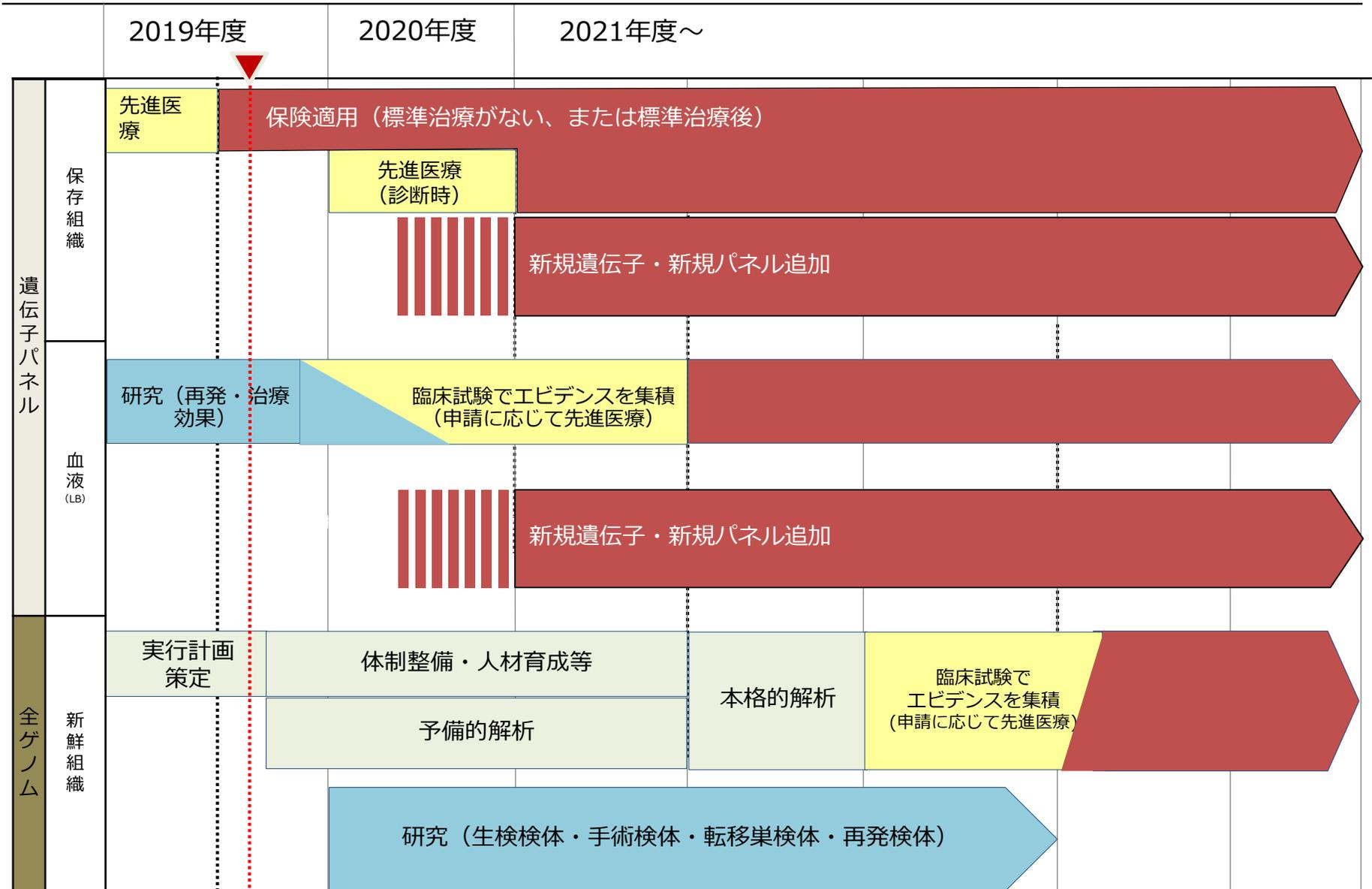
(1) がんに関するゲノム医療の推進について

がんゲノム検査の種類



がんゲノム検査の種類	単一遺伝子検査 (コンパニオン診断)	遺伝子パネル検査	全エクソン検査	全ゲノム検査
対象	<ul style="list-style-type: none"> がんに関連する1つの遺伝子 	<ul style="list-style-type: none"> がんに関連する複数の遺伝子 (100~500箇) 200万塩基対 	<ul style="list-style-type: none"> 全ての遺伝子領域 (約25,000箇) 4500万塩基対 	<ul style="list-style-type: none"> 全てのゲノム領域 (遺伝子領域と遺伝子領域以外のすべての領域) 30億塩基対
治療との関連	<ul style="list-style-type: none"> 対応する治療薬が確立している遺伝子 	<ul style="list-style-type: none"> 対応している薬物療法が確立していない遺伝子も含む 	<ul style="list-style-type: none"> 対応している薬物療法が確立していない遺伝子が大半を占める 	<ul style="list-style-type: none"> 機能がわかっていない領域が大半を占める
臨床的有用性	<ul style="list-style-type: none"> 確立しており、遺伝子変異に対応する治療薬もある 	<ul style="list-style-type: none"> 臨床応用できるレベルに到達しており、遺伝子変異に対応する治療薬も一部あり (多くは保険適用外・未承認薬) 	<ul style="list-style-type: none"> 全エクソン検査で新しい発見は求めにくく、臨床上的有用性はパネル検査とほぼ同じ(既に3万人に及ぶがん患者の全エクソン解析済み) 	<ul style="list-style-type: none"> 既知の部分(コンパニオン診断やパネル検査)以外は研究中。 遺伝子パネル検査や全エクソン解析で判らなかったがんの原因が明らかになると期待される
臨床現場での活用	<ul style="list-style-type: none"> 既に一部保険適用 	<ul style="list-style-type: none"> 2019/6 2種類のパネル検査を保険適用 	<ul style="list-style-type: none"> 研究進行中 	<ul style="list-style-type: none"> 研究進行中

ゲノム医療推進に向けた流れ (イメージ)

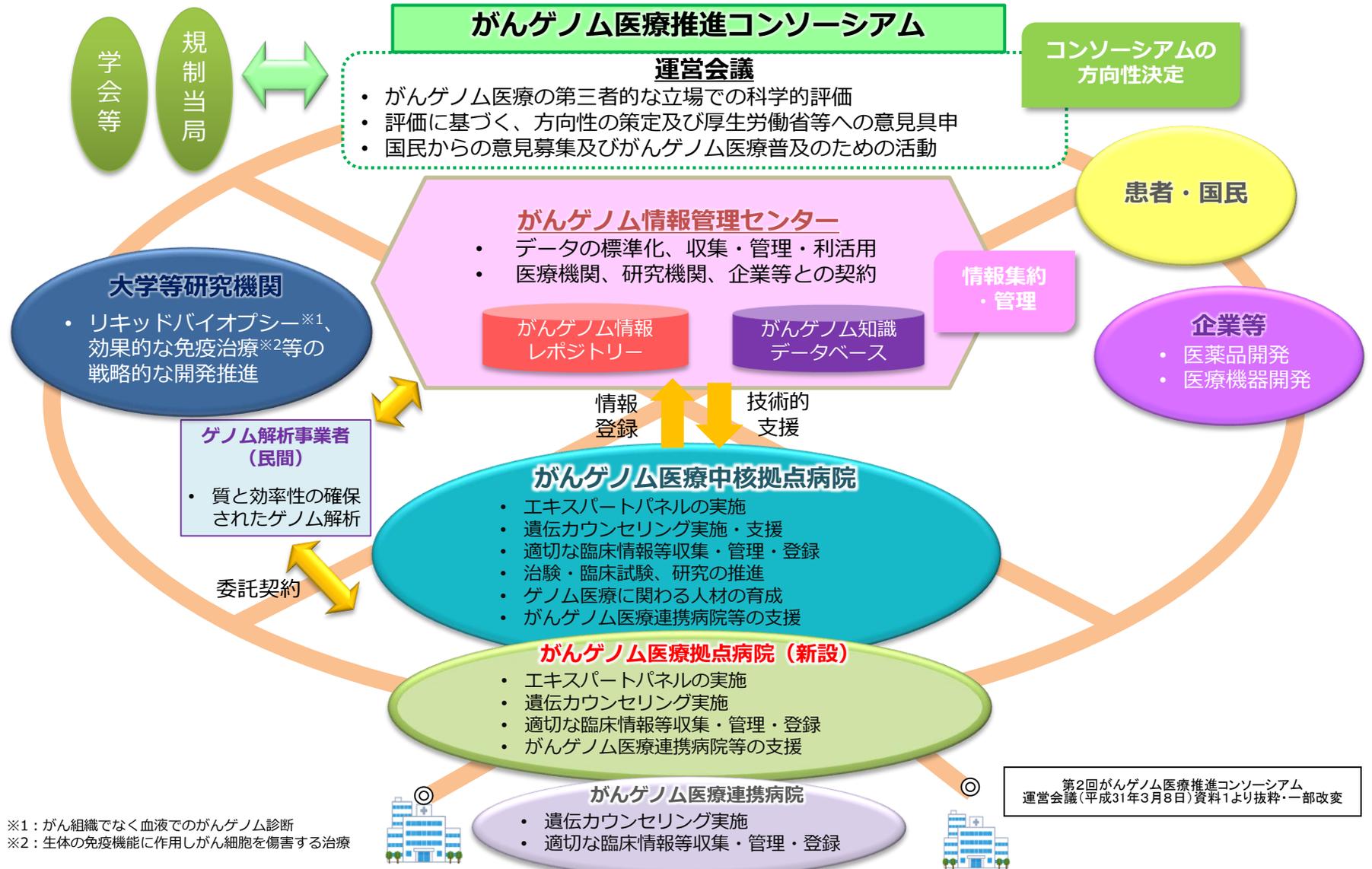


がんゲノム医療実用化に向けた工程表

第2回がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議より抜粋・一部改変

	2017年度	2018年度				2019年度				2020年度				2021年度
	1~3月	4~6月	7~9月	10~12月	1~3月	4~6月	7~9月	10~12月	1~3月	4~6月	7~9月	10~12月	1~3月	4月~
がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議			第1回 (8月)		第2回 (3月)		継続して実施							
がんゲノム医療中核拠点病院等	中核拠点病院指定 (2月)						拠点病院34カ所追加	実施施設の拡大						
	連携病院公表 (3月)		連携病院35カ所追加			連携病院21カ所追加								
ゲノム検査や医薬品の承認・保険適用	先進医療におけるパネル検査の位置づけの検討	パネル検査を活用した新たな先進医療の実施 (中核拠点病院等) 実施状況 NCCオンコパネル(4月より開始) 東大オンコパネル(8月より開始) 阪大・Oncomine (10月より開始)			2種類のパネル検査機器を薬事承認 (12月)		2種類のパネル検査を保険適用 (6月)	新たな先進医療の実施						
医薬品の医師主導治験・先進医療等の推進 申請に応じた条件付き早期承認の活用による医薬品の適応拡大、全ゲノム検査の位置づけ等の検討等														
がんゲノム情報管理センター	稼働準備	開設 (6月)	がんゲノム情報管理センター稼働											
	プロトタイプ構築等		がんゲノム知識データベースの構築				がんゲノム知識データベース機能拡張							
			がんゲノム情報レポジトリの構築	がんゲノム情報レポジトリへのデータ集積										
研究開発推進	がんゲノム情報管理センターでゲノム情報や臨床情報を集約・整備し、産学官の研究者による革新的医薬品や診断技術などの開発推進に貢献													
	全ゲノム解析の技術開発と体制強化													
	効果的な免疫療法・リキッドバイオプシー等の開発推進													
治験等ポータルサイト (治験情報等の一元化を段階的に整備)														

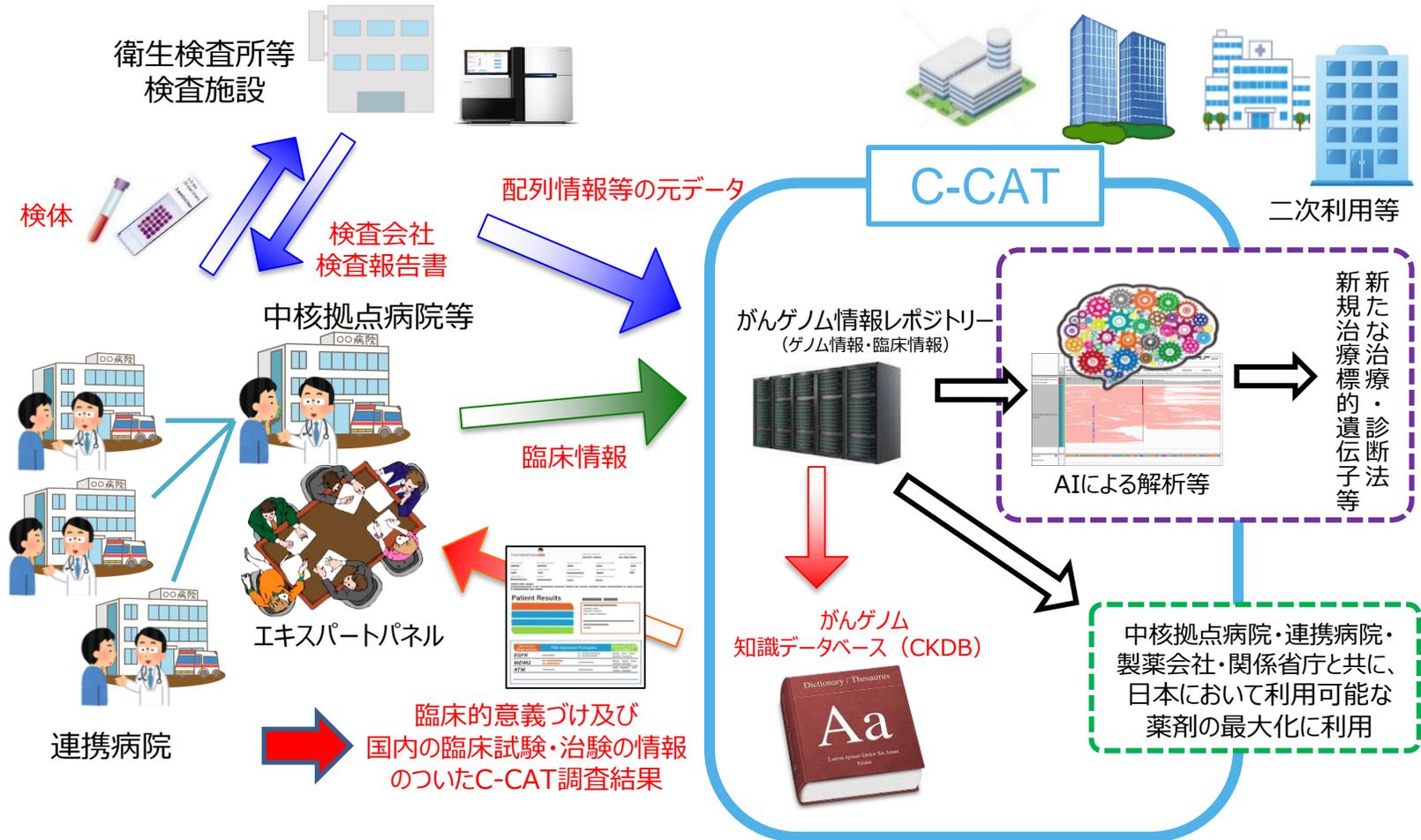
がんゲノム医療推進コンソーシアムの体制と役割



※1：がん組織でなく血液でのがんゲノム診断
 ※2：生体の免疫機能に作用しがん細胞を傷害する治療

がんゲノム情報管理センター

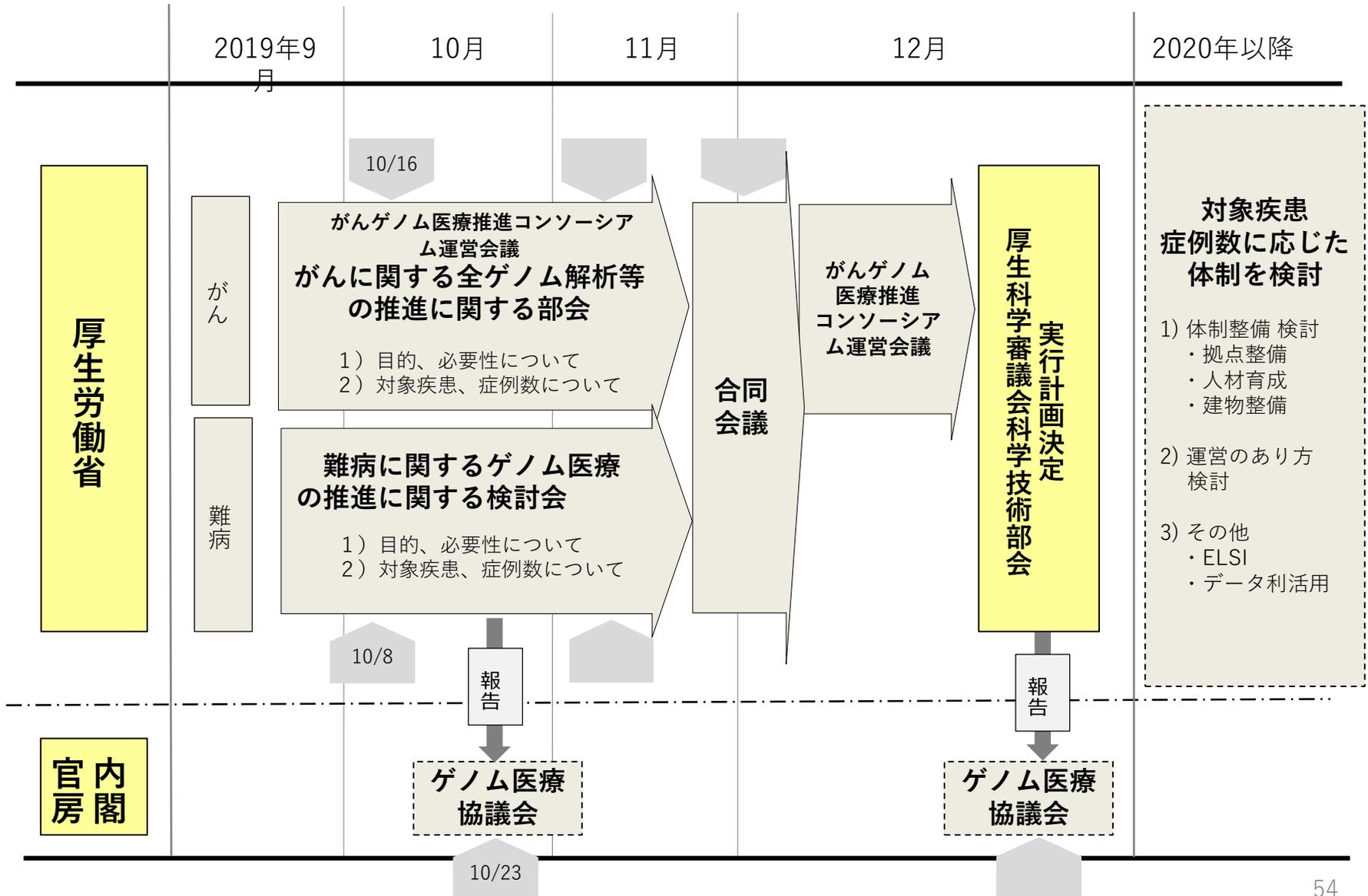
(国立がん研究センターに設置：Center for Cancer Genomics and Advanced Therapeutics: C-CAT)



個人情報保護法等関係法令等を遵守する

データセキュリティに関して法令と3省3ガイドラインを遵守

全ゲノム解析等の推進に向けた検討の進め方



検討会の位置付け及び委員

検討事項

- がん・難病の全ゲノム解析に関し、対象疾患・症例数・体制整備・運営整備等について検討
- 検討した内容をもとに実行計画の案を作成

がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議

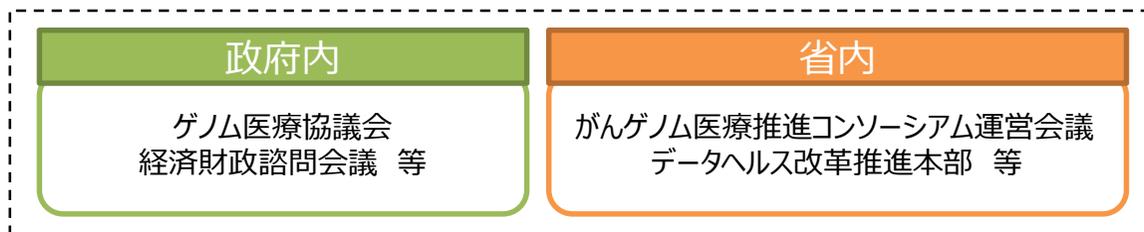
がんに関する全ゲノム解析等の推進に関する部会 ○は部会長

役割	氏名	所属・役職
臨床の有識者	◎山口 建	静岡県立静岡がんセンター総長
	大津 敦	国立研究開発法人国立がん研究センター東病院 病院長
基礎の有識者	柴田 龍弘	東京大学医科学研究所ゲノム医科学分野 分野長
	南谷 泰仁	京都大学大学院医学研究科・医学部 腫瘍生物学 特定准教授
倫理の有識者	横野 恵	早稲田大学社会科学部 准教授
情報科学の有識者	宮野 悟	東京大学医科学研究所ヒトゲノム解析センター長
患者代表	天野 慎介	全国がん患者団体連合会理事長
製薬協代表	安川 健司	日本製薬工業協会 副会長 ※アステラス製薬 代表取締役社長CEO

難病に関するゲノム医療の推進に関する検討会 ○は委員長

役割	氏名	所属・役職
有識者	◎水澤 英洋	国立精神・神経医療研究センター理事長・総長
	菅野 純夫	東京医科歯科大学難治疾患研究所非常勤講師 ※日本学術会議基礎生物学委員会・統合生物学委員会・基礎医学委員会合同 ゲノム科学分科会委員長
	松原 洋一	国立成育医療研究センター 研究所 所長 ※日本人類遺伝学会理事長
倫理の有識者	神里 彩子	東京大学医科学研究所先端医療研究センター 生命倫理研究分野 准教授
情報科学の有識者	鎌谷 洋一郎	東大大学院複雑ゲノム解析分野 教授
患者代表	森 幸子	日本難病・疾病団体協議会代表理事 ※日本難病・疾病団体協議会代表
製薬協代表	三津家 正之	日本製薬工業協会 副会長 ※田辺三菱製薬 代表取締役社長

検討状況を報告



がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議

がんに関する全ゲノム解析等の推進に関する部会 報告

第1回がんに関する全ゲノム解析等の推進に関する部会における論点について

(1) がん領域における全ゲノム解析等の必要性・目的について

- がんのゲノム医療に関しては、「成長戦略実行計画・成長戦略フォローアップ・令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」(令和元年6月21日閣議決定)において、「その克服を目指した全ゲノム医療の実現に向け、質の高い全ゲノム情報と臨床情報を、患者同意及び十分な情報管理体制の下、国内のがんゲノム情報管理センターに集積し、当該データを、関係者が幅広く創薬等の革新的治療法や診断技術の開発等に分析・活用できる体制を整備し、個別化医療を推進する」とされている。
- がんのゲノム医療に関するこれまでの取組と課題についてどのように考え、またがん領域における全ゲノム解析等の必要性及び目的について、どのように考えるか。

(2) 数値目標について(対象疾病や症例数の考え方)

- がん領域における全ゲノムデータ基盤の整備に当たって、全ゲノム解析等を行う対象疾患や症例数に関する数値目標の設定の考え方を整理する際には、**がんの中から対象疾患に優先順位をつけつつ、全ゲノム解析等を行う検体数について、これまでの研究実績や統計学的な観点も踏まえて検討してはどうか。**
- 上記を考えるに当たっては、これまでの有識者ヒアリングの内容を踏まえ、がんを以下の(1)から(4)の4つの類型に分け、①から⑥について、それぞれ検討してはどうか。

【がんの種類】

(1) 罹患数の多いがん (2) 希少がん (3) 小児がん (4) 遺伝性のがん

【検討事項】

- ① 対象疾患
- ② がん種当たりの目標症例数
- ③ 確保可能な症例数
(既存のバイオバンク保存検体を活用する場合の数、新規に検体を収集する場合に一年間に見込まれる数)
- ④ 対象の明確化 (新鮮凍結検体、生検検体、血液、FFPEの可能性等)
- ⑤ 採取すべき検体
(例：標準治療前の検体(手術検体)、標準治療後の検体、小児がんや遺伝性のがんにおける両親など血縁者の検体(トリオ検体))
- ⑥ 優先順位を検討するに当たり考慮すべき点
(例：日本における罹患数、5年生存率等の標準治療の成果、海外での研究を含む既存の知見の程度)

第1回がんに関する全ゲノム解析等の推進に関する部会における主な御意見

(1) がん領域における全ゲノム解析等の必要性・目的について

- 全ゲノム解析等は、パネル検査や全エクソン解析で解読できない遺伝子間領域、遺伝子内でカバーされない領域（遺伝子調節領域、イントロン領域）の異常や構造異常等を検出することができ、日本人の遺伝的背景等を含めた包括的ながんの病態解明が可能となる。俯瞰的な視点で新たな発見が期待され、がんの予防や新たな治療法の発見等に結びつく可能性がある。
- これまで研究・医療が進められてきた罹患数の多いがんと、そうでない小児がんや希少がんとは、目的を別に検討する必要がある。

(2) 数値目標について（対象疾病や症例数の考え方）

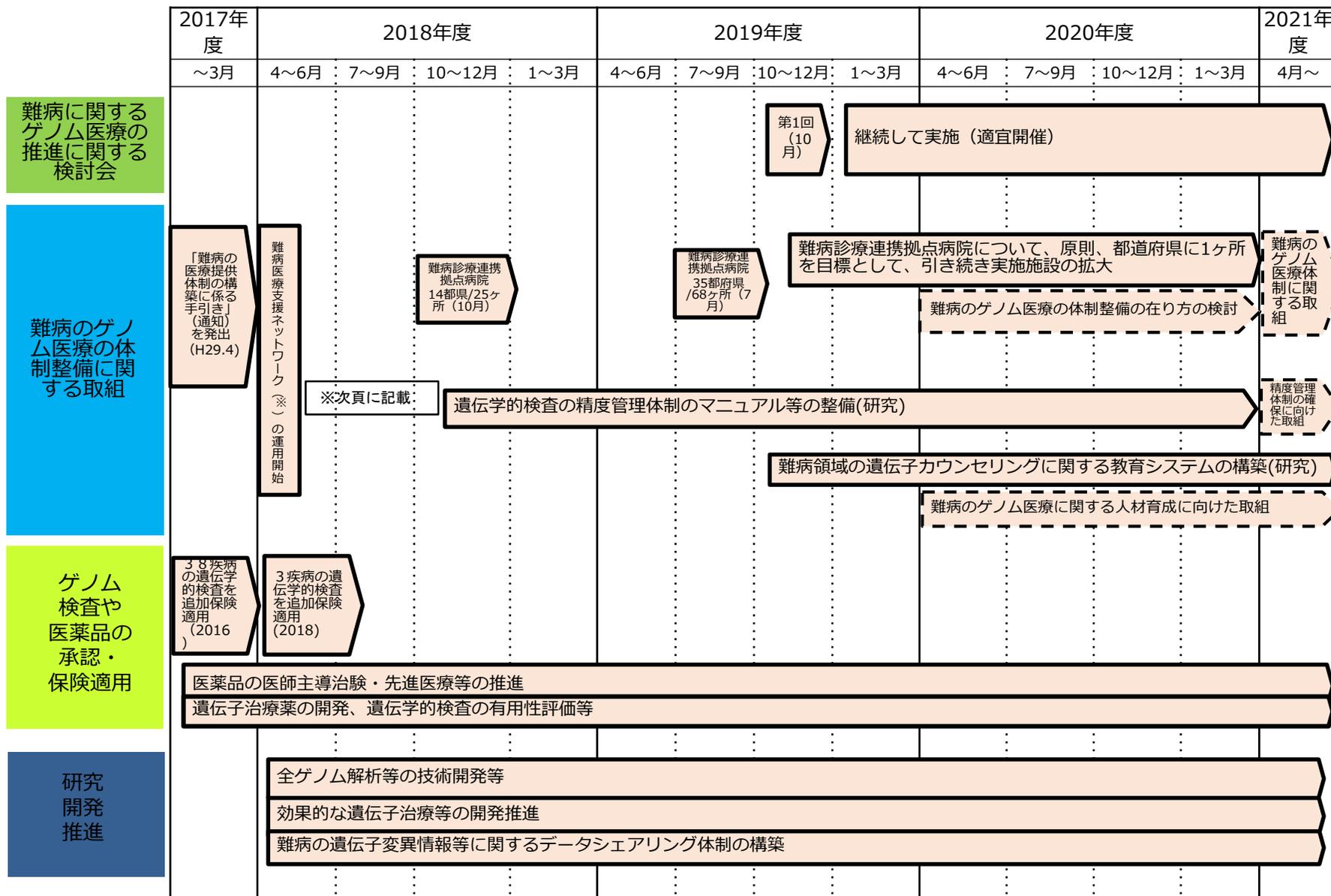
- （全ゲノム解析等を行うにあたっては、）はじめから10万症例を目指して動き出すのではなく、まずは2、3年間で、既存検体を用いて、1、2万の固形がん症例をパイロット的に開始し、その経験を踏まえて段階的に体制作りをするべき。
- 小児がん、希少がん、遺伝性腫瘍などの症例を集積するのは、非常に時間がかかることが予想されるため、既に検体のあるバイオバンクなどを有効に活用すべき。
- 罹患数が多く、かつアンメット・メディカル・ニーズ（※）の高いがん種が重要。創薬の観点からは、新たながん化メカニズムや薬剤耐性機序の解明につながるがん種を選定することが重要。患者の立場からは小児がん、希少がん、難治がん、血液がんが重要である。（※いまだ有効な治療方法がない疾患に対する医療ニーズ）
- 対象疾患や目標症例数は、パイロットスタディや世界の研究動向を踏まえて流動的に修正すべき。
- 海外との差別化（海外のデータベースで収集できる情報以外に注力する）を考えて実行すべき。

(※) その他の事項

- 全ゲノム解析を進めるには、日本の社会環境整備が重要。諸外国のように遺伝子による差別を禁止する法整備や社会環境整備が必要である。
- 全ゲノム解析を進める際には、患者が研究への参画や遺伝学的検査の受験を躊躇することのないよう、倫理指針を遵守し、患者の情報保護しつつデータの十分な利活用を図るという観点も必要である。
- 全ゲノム解析を行うにあたって、解析拠点を1箇所に集約するかどうかについても議論が必要である。
- 海外での膨大な全ゲノム解析結果がすでに利用可能な中で、海外の後追いではない戦略的な研究計画が必要である。特に開発の領域ではスピードと国際展開を重視しないと実用化にはつながりにくく、民間及び研究者グループを主体として進めるべきではないか。

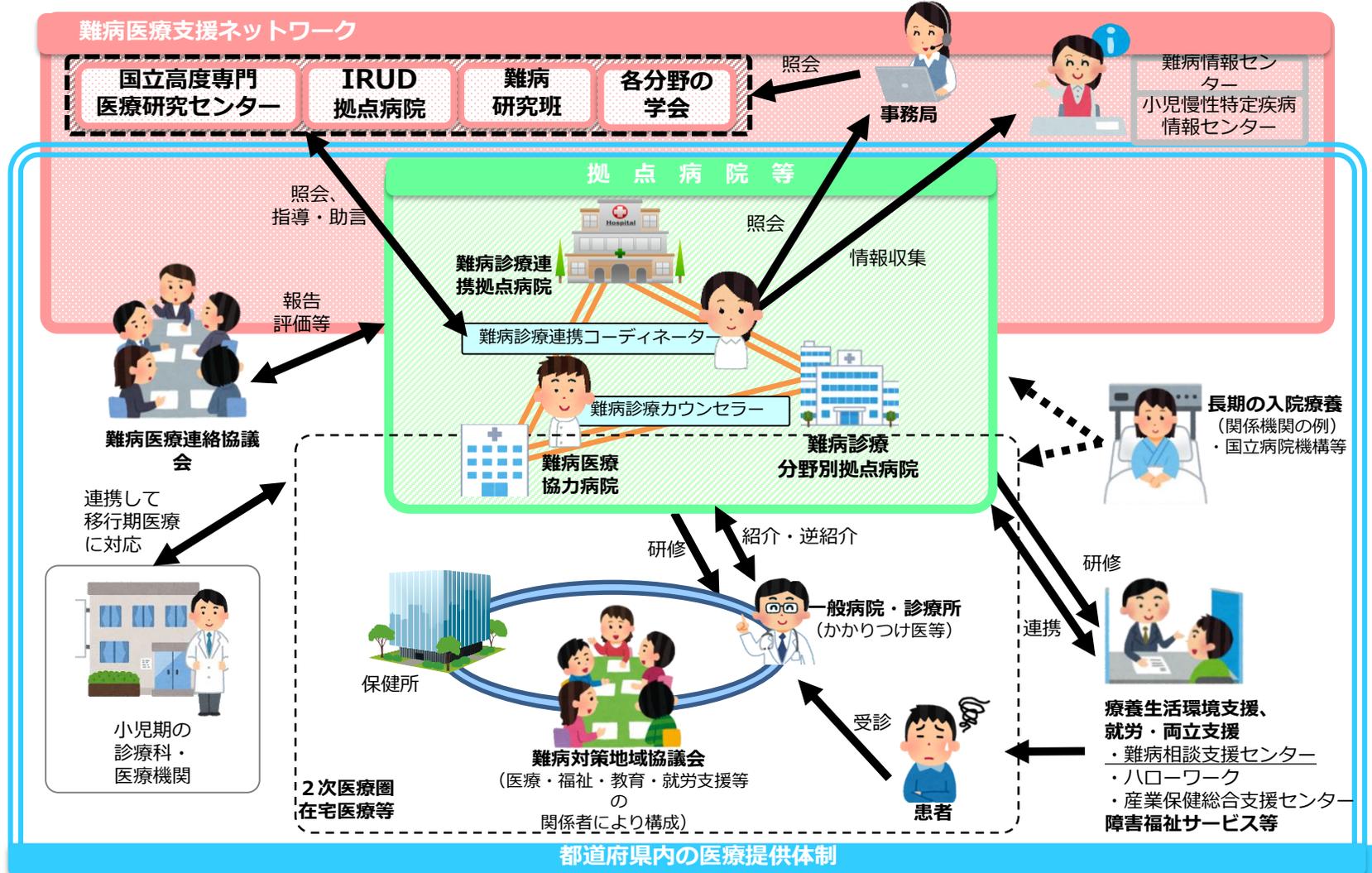
(2) 難病に関するゲノム医療の推進について

難病ゲノム医療実用化に向けた工程表



難病の医療提供体制のイメージ（全体像）

- 「できる限り早期に正しい診断が受けられ、診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることができる体制」を整備するため、都道府県が指定する難病診療連携拠点病院や難病診療分野別拠点病院が中心となって、難病医療支援ネットワークと連携しながら、難病患者に対する相談支援や診療連携、入院調整等を行う体制の整備を行うこととしている。



※令和元年7月1日現在、難病診療連携拠点病院については35都府県（68医療機関）、難病診療分野別拠点病院については15県（35医療機関）において整備されている。

保険収載されている遺伝学的検査

- 令和元年9月現在、指定難病のうち60疾病についてはその診断のための遺伝学的検査が保険収載されており、難病の診療において利用されている。

保険収載されている遺伝学的検査

ア PCR法、DNAシーケンス法、FISH法又はサザンブロット法による場合に算定できるもの

- ① デュシェンヌ型筋ジストロフィー、ベッカー型筋ジストロフィー及び家族性アミロイドーシス
- ② 福山型先天性筋ジストロフィー及び脊髄性筋萎縮症
- ③ 栄養障害型表皮水疱症及び先天性QT延長症候群

イ PCR法による場合に算定できるもの

- ① 球脊髄性筋萎縮症
- ② ハンチントン病、網膜芽細胞腫及び甲状腺髄様癌

ウ ア、イ及びエ以外のもの

- ① 筋強直性ジストロフィー及び先天性難聴
- ② フェニルケトン尿症、ホモシスチン尿症、シトルリン血症（1型）、アルギノコハク酸血症、イソ吉草酸血症、HMG血症、複合カルボキシラーゼ欠損症、グルタル酸血症1型、MCAD欠損症、VLCAD欠損症、CPT1欠損症、隆起性皮膚線維肉腫及び先天性銅代謝異常症
- ③ メーブルシロップ尿症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症、メチルクロトニルグリシン尿症、MTP（LCHAD）欠損症、色素性乾皮症及びロイスディーツ症候群及び家族性大動脈瘤・解離

エ 別に厚生労働大臣が定める施設基準に適合しているものとして地方厚生（支）局長に届け出た保険医療機関において検査が行われる場合に算定できるもの

- ① ライソゾーム病（ムコ多糖症Ⅰ型、ムコ多糖症Ⅱ型、ゴーシェ病、ファブリ病及びポンペ病を含む。）及び脆弱X症候群
- ② プリオン病、クリオピリン関連周期熱症候群、神経フェリチン症、先天性大脳白質形成不全症（中枢神経白質形成異常症を含む。）、環状20番染色体症候群、PCDH19関連症候群、低ホスファターゼ症、ウィリアムズ症候群、アペール症候群、ロスムンド・トムソン症候群、プラダー・ウィリ症候群、1p36欠失症候群、4p欠失症候群、5p欠失症候群、第14番染色体父親性ダイソミー症候群、アンジェルマン症候群、スミス・マギニス症候群、22q11.2欠失症候群、エマヌエル症候群、脆弱X症候群関連疾患、ウォルフラム症候群、高IgD症候群、化膿性無菌性関節炎・壊疽性膿皮症・アクネ症候群及び先天異常症候群
- ③ 神経有棘赤血球症、先天性筋無力症候群、原発性免疫不全症候群、ペリー症候群、クルーゾン症候群、ファイファー症候群、アントレー・ビクスラー症候群、タンジール病、先天性赤血球形成異常性貧血、若年発症型両側性感音難聴、尿素サイクル異常症、マルファン症候群、エーラスダンロス症候群（血管型）、遺伝性自己炎症疾患及びエプスタイン症候群

難病の全ゲノム解析等の対象疾患の考え方について（イメージ）

難病法上の難病※1

※1 難病法上、難病とは、「発病機構が不明、治療方法未確立、希少疾病、長期療養が必要」の4つの要件を満たすものとしている。

(3)

指定難病 333疾病（告示病名）※2

※2 難病法上、医療費助成の対象となる指定難病とは、「発病機構が不明、治療方法未確立、希少疾病（患者数が人口の概ね0.1%程度）、長期療養が必要、客観的診断基準の確立」の5つの要件を満たすものとして厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて指定する疾患となっている。

(2)

単一遺伝子性疾患が含まれる疾病 約230疾病（告示病名）

(1)

単一遺伝子性疾患のみ
（約150疾病）

単一遺伝性疾患と
多因子疾患の混在
（約80疾病）

難病に関するゲノム医療の推進に関する検討会 報告

難病のゲノム医療推進に関する実施計画策定に当たり検討すべき事項について

(1) 難病領域における全ゲノム解析等の必要性・目的について

- 難病のゲノム医療に関し、「成長戦略実行計画・成長戦略フォローアップ・令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」（令和元年6月21日閣議決定）において、「難病等については、より早期の診断の実現に向けた遺伝学的検査の実施体制の整備や、遺伝子治療を含む全ゲノム情報等を活用した治療法の開発を推進する」とされている。
- 難病のゲノム医療に関するこれまでの取組と課題についてどのように考え、また、難病領域における全ゲノム解析等の必要性及び目的について、どのように考えるか。

(2) 数値目標について（対象疾病や症例数の考え方）

- 指定難病の対象疾病数は333疾病、指定難病（特定医療）受給者証所持者数は約89万人（平成29年度末現在）である。
- 難病領域におけるゲノムデータ基盤の整備に当たって、その対象疾患や症例数に関する数値目標の設定の考え方を整理する際には、**難病の中から対象疾病に優先順位をつけつつ、全ゲノム解析等を行う検体数について、これまでの研究実績や統計学的な観点も踏まえて検討してはどうか。**
- 上記を考えるに当たっては、難病を以下の3つの類型（別紙参照）に分け、それぞれの必要性・目的・優先順位を検討してはどうか。

(1) 単一遺伝子性疾患（※1）

※1 単一遺伝子性疾患：単一の遺伝子の変異により起こる遺伝性疾患。

-対象疾患の優先順位を検討するに当たり、考慮すべき点は何か。

（例：原因遺伝子の数、遺伝子検査が保険収載の有無 等）

-数値目標の検討に当たり、考慮すべき点は何か。

（例：1症例当たりに必要な検体数（家族検体の必要性）

疾患の症例数に応じた数値目標の定め方（全数、一定数） 等）

(2) 多因子性疾患（※2）

※2 多因子性疾患：複数の遺伝因子に加え、環境・生活習慣や老化が関わって発症する疾患。

-対象疾患の優先順位を検討するに当たり、考慮すべき点は何か。

-数値目標の検討に当たり、考慮すべき点は何か。

（例：疾患の症例数に応じた数値目標の定め方（全数、一定数） 等）

(3) 現時点で疾患概念が確立していない新規疾患

-対象疾患を定めることは困難であるが、この領域を全ゲノム解析等の対象にすることをどう考えるか。

-数値目標の検討に当たり、考慮すべき点は何か。

難病に関するゲノム医療の推進に関する検討会（第1回）における主な御意見

（1）難病領域における全ゲノム解析等の必要性・目的について

- 希少遺伝性難病の未解明の症例の原因究明には、全ゲノム解析が極めて有力な研究手段であり、将来的には適切な診断、治療、発症予防にもつながる。
- 指定難病の中で患者数が多い孤発性疾患では、疾患との相関がある遺伝子が同定できれば、当該疾病に対する創薬につながる。
- 患者の立場からは、診断基準が確立していない難病は、指定難病に指定されないため、必要な支援が受けられないという状況にある。また、指定難病であっても、なかなか診断がつかない患者も依然として多く、既存の治療薬すら届かない状況にある。全ゲノム解析を推進することで、こうした状況の改善を期待したい。
- 英国のみならず、世界各国において全ゲノム情報を活用したGenomic-Medicineの取組が始まっている。全ゲノム情報基盤は、今後、生命科学、医療、産業等に当然配備すべきものであり、日本にとって必要というより必須の取組である。

（2）数値目標について（対象疾病や症例数の考え方）

<対象疾病>

- 指定難病の中で患者数が多い孤発性疾患であって、「単一遺伝子性疾患と多因子疾患の混在」からなる疾病やheritability（遺伝率）が高いことが示されている疾患を優先的に対象としてはどうか。
- 超希少疾患（例えば日本に1例～数例）については、国際連携等により一定数の症例を確保することで解析が可能で、新たな学問的・生物学的知見につながる可能性があるため、対象から除外すべきではない。
- 既知の遺伝子異常が同定されている症例については、新たな発見につながらないため、対象から除外すべき。
- 未診断疾患領域の疾病については、我が国初の新規疾患の発見につながる可能性があり、研究的な意義が大きい。

<症例数の考え方>

- 単一遺伝性疾患と多因子性疾患では、研究のアプローチが異なる。単一遺伝子性疾患は、両親の全ゲノム解析が必要で、1例からでも新しい発見が期待できる。他方、多因子疾患は十分な症例数が必要であり、健常人と比較することが必要。
- 孤発性疾患については、アレル頻度などから1疾患あたりの検体数を算定し、目標到達まで段階を踏む戦略がいいのではないかと（戦略の例 ステップ①1000例（既存検体）⇒ステップ②5000例（新規検体）⇒解析結果を踏まえて次のステップ）
- 数値目標を定めるに当たって、現実的に症例数が集まるかが重要。例えば単一遺伝子性疾患では、本当に希少な疾病の患者さんを集められるか、多因子疾患（混在型を含む）は、最終的には万単位の症例数が必要であるなら、それだけの数を集める体制があるか等の観点も必要。

（3）人材育成・体制整備について

- 全ゲノム配列決定については、規模が大きくなる場合は、外注も含め1つの拠点で集中的に行うのが良い。ただ、その結果得られる配列データの情報解析等は、人材育成の観点からも複数拠点で役割分担して行うことが望ましい。
- ゲノムデータだけでなく臨床データの質も重要。医療現場の負担に配慮しつつ、データの質・量のバランスを図ることが必要。

今後の検討スケジュール（がん・難病）

第1回

- 背景（基本情報、検討会設置の経緯等を含む）
- ヒアリング（必要性・目的、対象疾患、症例数）
- 論点を提示した上での議論
 - －必要性・目的
 - －対象疾患
 - －症例数

第2回 以降

- 第1回目の議論を踏まえた、対象疾病、数値目標に関する検討
- ヒアリング
- 論点を提示した上での議論
 - －運営体制
 - －体制整備

- 全ゲノム解析等の実行計画に関する案の提示（がん・難病合同開催）

7. 医療機器産業関係

医療機器産業の課題と取り組み

日本企業の現状

- 業界最大手のオリンパスメディカルの世界順位は第20位。(2016年 MPO Magazine)
- 2015年の医療機器における輸出入差額 (= 貿易収支) は、約8,023億円の輸入超過
- 個別の分野ごとに見ると、ペースメーカーや人工内耳など日本企業が参入できていない分野もある一方、**X線CT装置、カテーテル**といった**国内市場では一定のシェアを有しているが、いまだ海外市場ではシェアが少ない(潜在的には国際競争力がある可能性の)分野がある。**

主な課題

- 様々な製品分野にわたっており、大企業と中小企業が混在
→ **分野毎に国際競争力等に差違がある(全体として、輸入超過)**
- 人体への侵襲性の高い技術など高度な技術(人工臓器、ロボット、高解像度の画像など)や医工連携を活用した最先端技術が必要
- 製品開発後の適正使用やメンテナンスなど医療現場との連携が不可欠

主な取り組み

医療機器基本計画やオールジャパンの医療機器開発プロジェクトに基づき、医療分野の研究開発や人材育成等の基盤整備を進めるとともに、日本の医療技術等の国際展開を推進。

医療機器基本計画

- 医療機器促進法に基づく基本計画が平成28年5月31日に閣議決定された
- 医療機器政策に特化し、研究開発から実用化、国際展開に至る各段階に応じた厚生労働省、文部科学省及び経済産業省の各種施策を網羅した政府として初めての計画

オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

- 医療機器促進法に基づく基本計画を着実に実行するため、また医工販連携による医療機器開発を促進すべく、AMEDを通じて、厚労省、文科省、経産省の連携による開発支援体制を強化
- 医療ニーズを踏まえた医療の質と効率性の向上・健康寿命の延伸と、医療機器産業の活性化を実現すべく、**オンリーワンの世界最先端かつ国際競争力・効率性の高い革新的医療機器の開発・事業化**について、**重点分野を定めた上で、総合的に促進**
- 我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速。特に、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める

国際展開

- 途上国等のニーズを十分に踏まえた医療機器等の開発や、日本の医療技術等の途上国展開に資するエビデンス構築を図るため、海外において行う臨床研究や実用化研究を助成

1. 新規の機能区分に係る事項

(1) イノベーションの評価について ①

使用実績を踏まえた評価が必要な製品に対する対応①

- 保険医療材料には、長期に体内に埋植するものや、革新性の高い技術を伴うもの等があり、保険収載までの間に最終的な評価項目を検証することが困難な場合がある。
- このような使用実績を踏まえた評価が必要な製品に対して、製品導入時には評価できなかった部分について、使用実績を踏まえて保険収載後に新規機能区分の該当性について再度評価を行うことができる仕組み(チャレンジ申請)を新設する。

NEW!

(保険収載までの間に真の臨床的有用性の検証が困難な例)

生体吸収性冠動脈ステント

: 従来の金属製ステントが体内に遺残するのに対して、約3年で生分解し消失する特徴を有する。

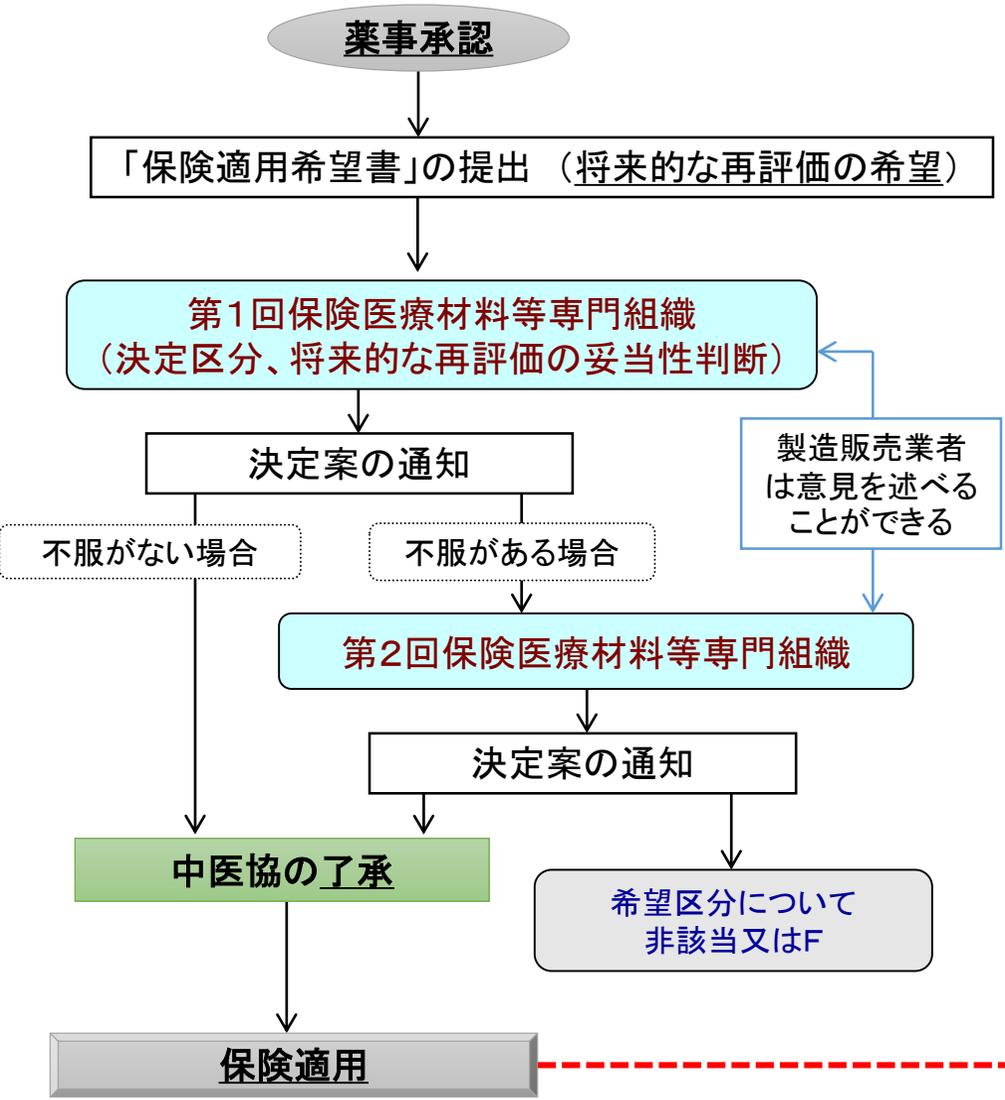


生分解し、消失することのメリットはさらに長期経過後にあることが想定される。

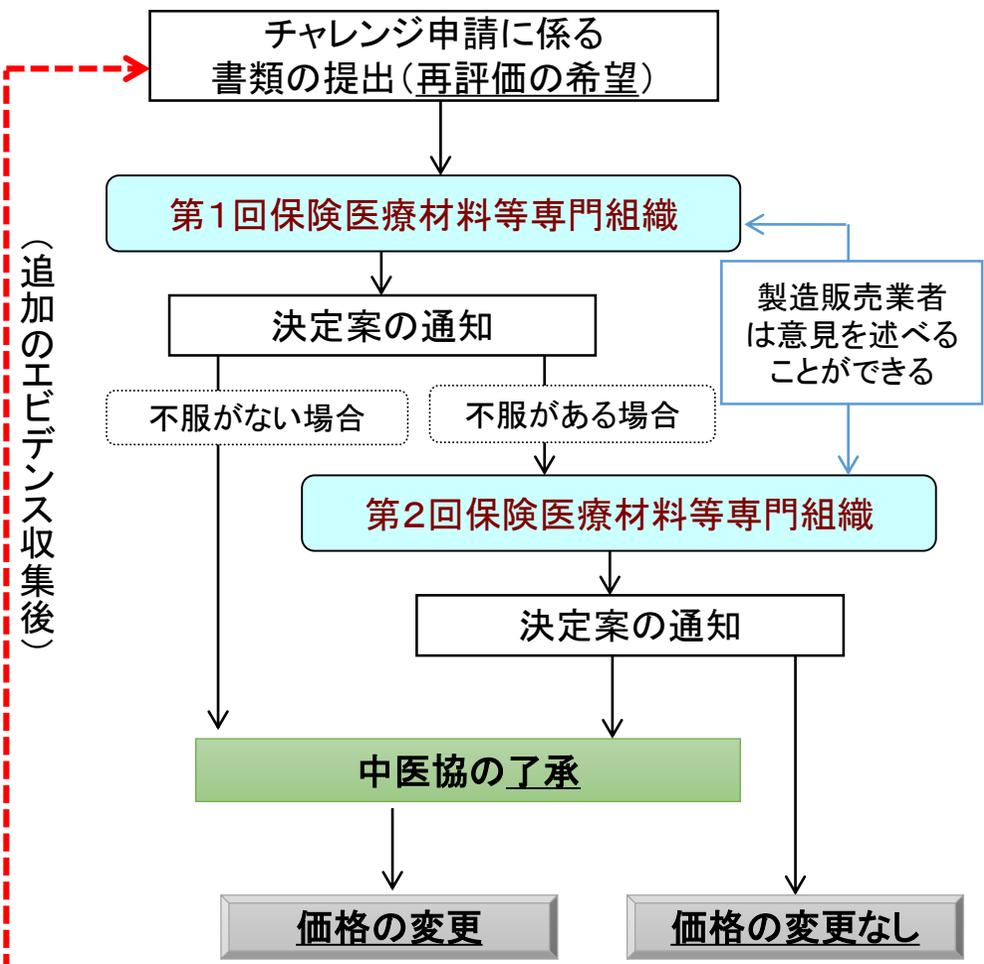
- ・長期経過後のイベントの低減
- ・再治療時の治療選択肢の温存 等

使用実績を踏まえた評価が必要な製品に対する対応②

【通常のスキーム
+ チャレンジ申請の妥当性判断スキーム】



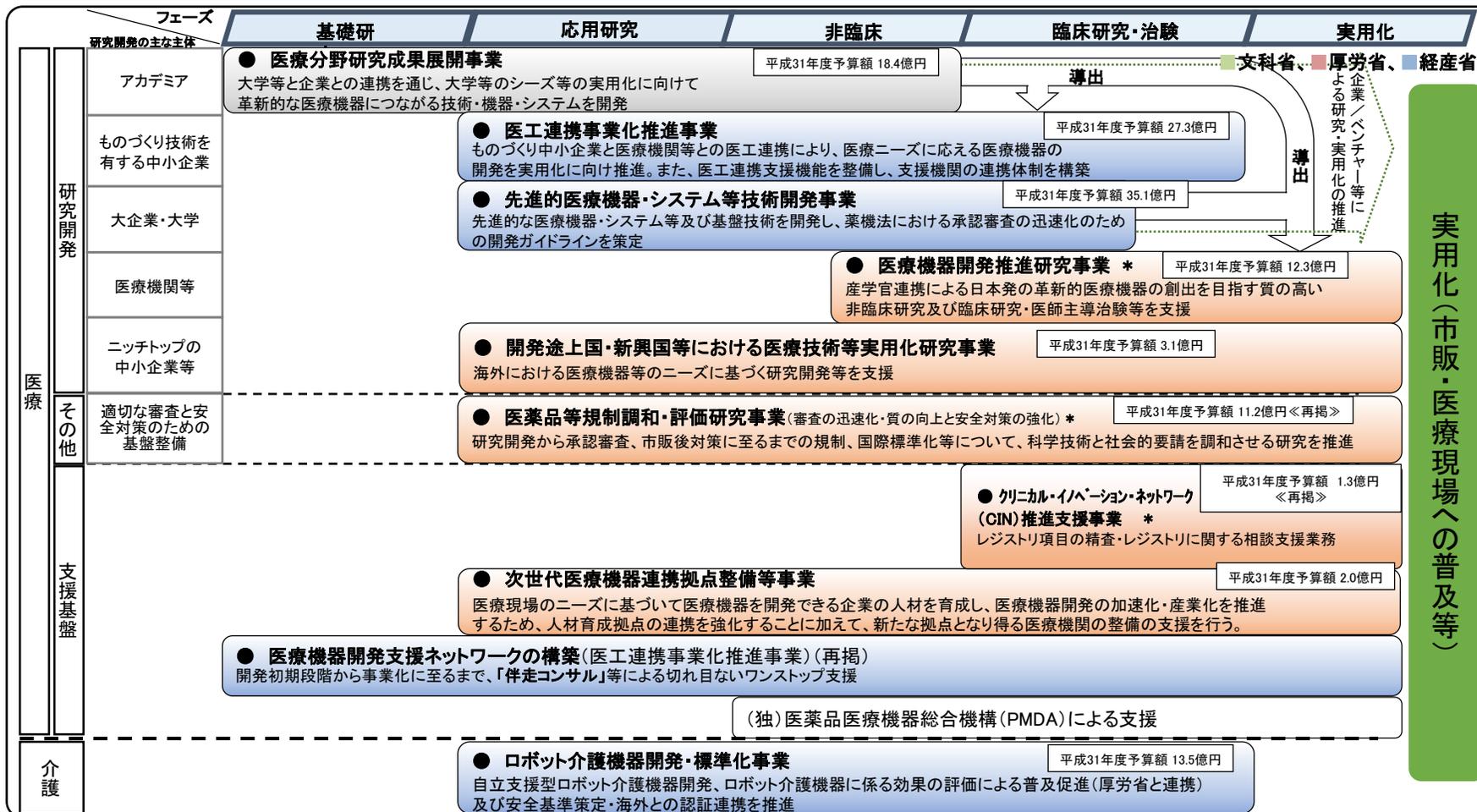
【チャレンジ申請スキーム】



オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 124.2億円

医療機器促進法に基づく医療機器基本計画を着実に実行するため、また医工連携による医療機器開発を促進すべく、AMEDを通じて、各省・専門支援機関（産総研、医療機器センター等）・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化し、我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。



実用化（市販・医療現場への普及等）

*CIN関連事業を含むもの

【2020年までの達成目標】

- 医療機器の輸出額を倍増（平成23年約5千億円→約1兆円）
- 5種類以上の革新的医療機器の実用化
- 国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円