

第 4 回 革新的医薬品創出のための官民対話

2021年5月17日



日本の患者さんにいち早く画期的な医薬品とワクチンを届けるために

EFPIAが考える現状

- 「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」のバランスを保つことが困難になりつつある
- 成長性と予見性の低下によって、日本に対する投資の優先順位が下がりつつある

日本国民の健康長寿への貢献が優先事項 – 起源がどこであれ、イノベーションを迅速に患者さんへ

- 最先端・高品質の製品をいち早くかつ安定的に日本国民に提供するために、産業再強化と環境整備が必要
- 長期的な投資を可能とするために、予見性の確保により世界的に魅力的な市場になることが必要

研究開発・薬事規制環境の改善

- シーズの起源に拘らない国の支援
- 治験環境の改善
- 規制の国際調和の推進
- 先駆的医薬品等の指定数拡大
- Real World Dataの積極的活用

「国民皆保険の持続性」と 「イノベーションの推進」の両立

- 薬価制度の予見性確保
- イノベーション評価の強化
- 費用対効果評価の透明性確保
- ワクチン事業の予見性向上

医療の質と効率性の確保

- 医薬品・ワクチンの社会や健康への貢献、産業について、官民の協力のもと国民に周知
- 医療提供効率化のためのデジタル化
- 医薬品安定供給確保のための人材育成

日本の患者さんにいち早く画期的な医薬品とワクチンを届けるために

研究開発・ 薬事規制環境の 改善	治験環境の改善	<ul style="list-style-type: none">治験費用の国際競争力強化と治験プロセスの効率化 (オンコロジー第三相試験の症例単価：平均100、米国118、日本160)
	規制の 国際調和の推進	<ul style="list-style-type: none">日本独自の規制の撤廃や運用見直し (カルタヘナ法対応の見直し、生物学的製剤の品質規制の国際調和推進等)国際共同試験成績の受け入れ促進 (「致命的でない疾患の治療に対し長期間の投与が想定される新医薬品」における国際共同試験成績の受け入れ等)
「国民皆保険の 持続性」と 「イノベーションの 推進」の両立	薬価制度の 予見性確保	<ul style="list-style-type: none">頻繁なルール改定の是正とルール改定から実施までの期間の是正 (2016年以降3回の改定で56項目のルール改定、12月決定で4月実施)薬価改定範囲の再検討 (2021年改定は平均乖離率超より拡大し、平均の0.625倍を対象に実施)
	イノベーション評価の 強化	<ul style="list-style-type: none">新薬創出加算におけるイノベーションの評価の拡充市販後に得られたエビデンスに基づく有用性評価

官民協力による医薬品・ワクチンに係る国民の理解・周知の向上

Back up

日本の患者さんにいち早く画期的な医薬品とワクチンを届けるために

#1 研究開発・薬事規制環境の改善

研究開発支援	<ul style="list-style-type: none">起源や開発企業が日本であることに拘らない国による支援・助成
治験環境改善	<ul style="list-style-type: none">治験費用の国際競争力強化 (オンコロジー第三相試験の症例単価：平均100、米国118、日本160)
規制の国際調和	<ul style="list-style-type: none">日本独自の規制の撤廃や運用見直し (カルタヘナ法対応の見直し、生物学的製剤の品質規制の国際調和推進等)国際共同試験成績の受け入れ促進 (「致命的でない疾患の治療に対し長期間の投与が想定される新医薬品」における国際共同試験成績の受け入れ等)
迅速承認制度の更なる活用	<ul style="list-style-type: none">先駆的医薬品等の指定数の大幅な拡大 (日本 先駆け：年5件程、米国 Breakthrough Therapy：年25-30件程)
Real World Dataの積極的利活用	<ul style="list-style-type: none">希少疾患用医薬品や小児医薬品に留まらない承認申請データとしての利活用

日本の患者さんにいち早く画期的な医薬品とワクチンを届けるために #2 「皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」のバランス見直し

薬価制度の 予見性確保	<ul style="list-style-type: none">頻繁なルール改定の是正とルール改定から実施までの期間の是正 (2016年以降3回の改定で56項目のルール改定、12月決定で4月実施)薬価改定範囲の再検討 (2021年改定は平均乖離率超より拡大し、平均の0.625倍を対象に実施)
イノベーション評価の 強化	<ul style="list-style-type: none">新薬創出加算におけるイノベーションの評価の拡充市販後に得られたエビデンスに基づく有用性評価
費用対効果評価の 透明性確保	<ul style="list-style-type: none">科学的妥当性の担保と全ての当事者が関与できる透明性の高いプロセスの確保 (第三者による事後検証が可能なレベルの情報公開など)
ワクチン事業の 予見性向上	<ul style="list-style-type: none">定期接種の早期化 (定期予防接種プログラムまでの掲載期間に数年の時間を要している)

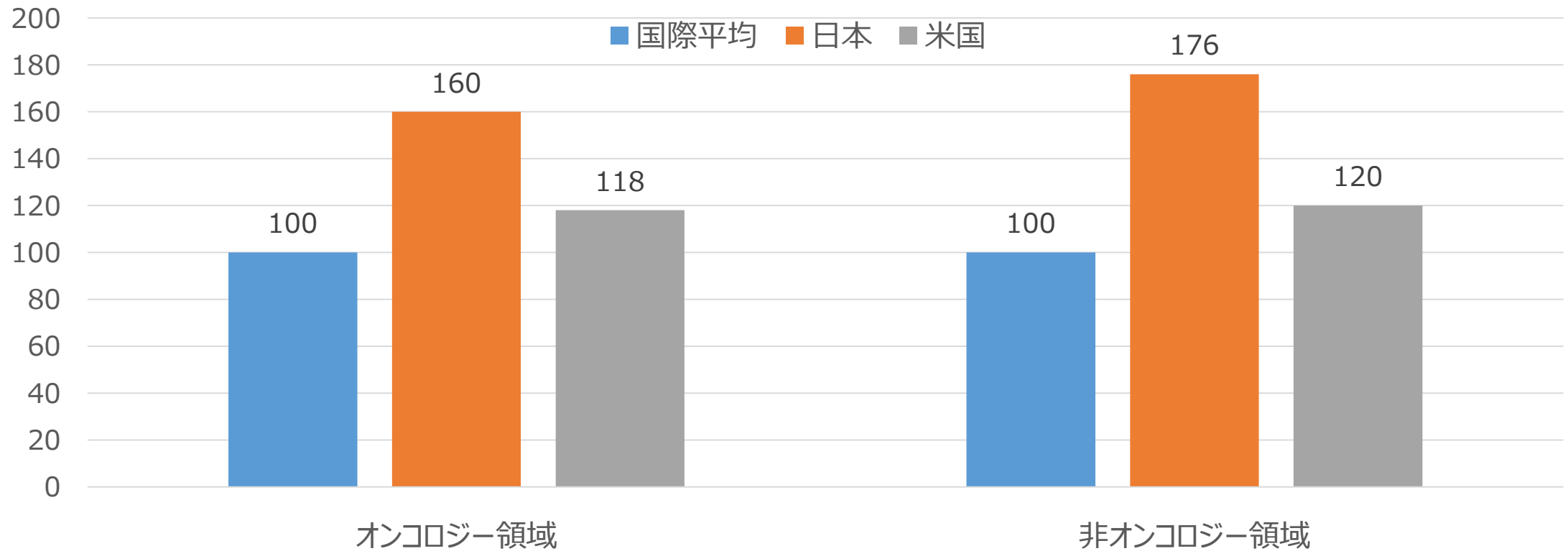
日本の患者さんにいち早く画期的な医薬品とワクチンを届けるために

#3 医療の質と効率性確保

医薬品・ワクチン リテラシー	<ul style="list-style-type: none">官民協力による医薬品・ワクチンに係る国民の理解・周知の向上 (医薬品・ワクチンの社会及び健康長寿の延伸への貢献、産業の特徴等)
デジタル化	<ul style="list-style-type: none">オンライン診療の拡充
医薬品の安定供給	<ul style="list-style-type: none">バイオを含めた製造設備投資ノウハウ獲得人材育成への支援

治験費用の国際競争力強化

第Ⅲ相 5 試験における症例単価比較



EFPIA, PhRMA加盟会社から5試験を抽出
症例単価の国際平均を100とした場合の日本と米国の比率

遺伝子組換え生物等の臨床使用の規制の比較

- カルタヘナ法による規制は欧米のViral Shedding及び環境影響に関する規制に相当し、規制自体をやめることは難しいが運用面での見直しは可能と思われる。

	日本	米国	欧州
カルタヘナ議定書批准	あり	なし	あり
環境影響評価ガイドライン	なし	あり	あり
環境影響評価の対象	遺伝子組換え生物等	遺伝子治療用製剤（含プラスミド）、ベクターワクチン、組換えウイルス、微生物製品	GMOを含有する遺伝子治療用製品
環境影響評価の時期	臨床試験開始前	承認申請時 （治験前は特殊例を除き不要）	承認申請時（EMA）
排出試験ガイダンス	ICH見解	あり	ICH見解
排出データの提出	明記されていない	承認申請に必要	承認申請に必要
排出試験の実施時期	1例目からの排出がないことを確認後、個室管理を解除	増殖性ウイルス；Phase I から 非増殖性ウイルス；Phase II 以降	英国：Phase I で排出量と期間、経路に関するデータを出来るだけ取得
投与後の患者の管理	入院（個室管理の場合あり）	外来又は入院	外来又は入院

海外での遺伝子組換え生物等の臨床使用の規制

- カルタヘナ法による規制は欧米のViral Shedding及び環境影響に関する規制に相当し、規制自体をやめることは難しいが運用面での見直しは可能と思われる。

米国	英国	欧州
<p>弱毒化や欠損による適切な生物学的拡散防止措置を適用することにより、物理拡散防止措置要件を1つ下のレベルに下げることが可能になっている。</p> <p>GMOの管理は、従来の製品を管理する健康、安全、および環境に関する法律に従って規制されている。</p> <p>米国のアプローチは、規制が製品の製造プロセスではなく、製品の性質に焦点を当てるべきであるという前提に基づいている。</p>	<p>日本の使用区分でGILSPやカテゴリー1に相当する低リスク案件に関しては、施設登録さえしておけば基本的に使用者の自主管理となっている。</p> <p>日本の低リスク案件で問題とされているような、承認待ちに起因する新技術導入に先立つ数カ月から1年以上にわたる長期間の時間的ロスは発生しない。</p>	<p>運用管理は施設登録のみで、リスクの低い案件に関しては原則的に遺伝子組換え生物使用事業者自身の管理に任せられるようになっている。</p> <p>日本における大臣確認待ちに起因する新技術導入に先立つ数カ月から1年以上にわたる長期間の時間的ロスなどの様な問題は発生しない。</p>

薬価制度の予見性を担保していただきたい

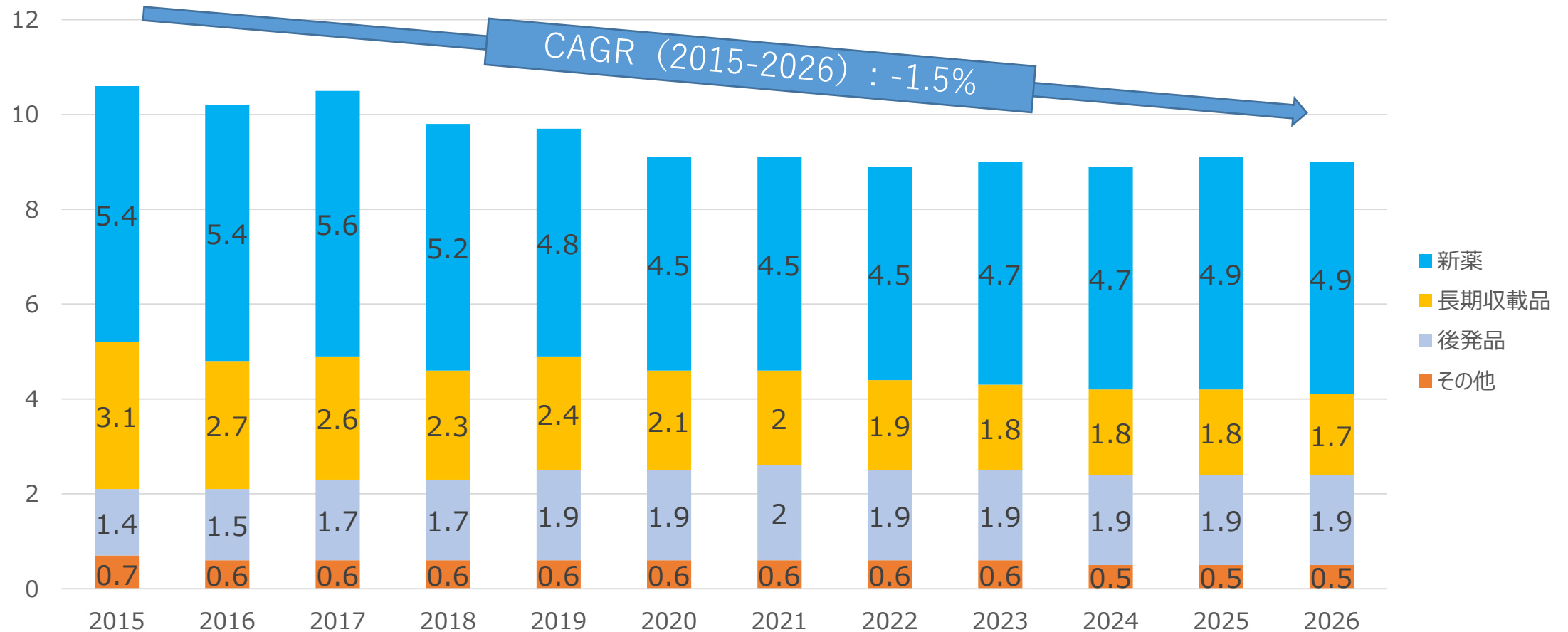
2016年以降の度重なる制度変更と厳しい制度設計

- 2016年に決定された「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（以下、「基本方針」）に盛り込まれた要素は2021年中間年改定までの短期間に全て対応された
例：新薬創出等加算の対象範囲の限定、再算定の厳格化、四半期再算定など
- 2021年4月の中間年改定対象品目は、「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」や「骨太の方針2020」の趣旨から逸脱しており、薬価制度の予見性が著しく毀損された

		中医協案（大臣折衝前）	最終案(大臣折衝後)
対象範囲(対平均乖離率)		1～2倍以上	0.625倍以上
品目数 *[分類毎の割合]	新薬	2品目[0.1%]～476品目[21%]	1,350品目[69%]
	新薬創出等 加算品	0品目[0%]～32品目[5%]	240品目[40%]

(出典：中医協資料)

乖離率の大きい品目を平均乖離率を超えるものと仮定した推計でも薬剤費支出は十分に管理される見込みだった



出典：EFPIA JapanとQuintilesIMS社の共同プロジェクトシミュレーション結果より