



# 革新的医薬品等に関する官民対話

2021年8月24日



欧州製薬団体連合会



# 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

- 薬価改定に頼って医療費の伸びを圧縮する手法では、「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は困難
- 市場の成長性と薬価制度の予見性の低下によって、日本に対する投資の優先順位が低下

## 日本国民の健康長寿への貢献に向けた優先事項

- 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、市場・制度の予見性確保により世界的に魅力的な市場をつくる必要がある
- 研究・開発・製造・供給における日本への貢献を考慮した内・外資の区別が無い産業政策が必要

### 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
- 薬事承認 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
- イノベーション評価の強化
- 費用対効果評価制度の見直し
- 流通改善と薬価制度の整合性
- ワクチン事業の予見性向上（定期接種化）等

### 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 等

# 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～

## 具体的に検討すべき項目

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"><li>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)</li></ul>
	規制の 国際調和の推進	<ul style="list-style-type: none"><li>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)</li><li>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)</li></ul>
	薬事承認	<ul style="list-style-type: none"><li>緊急時の薬事承認プロセスの迅速化に向けた基準整備</li><li>感染症以外の分野における治療方法が無い疾病に対する新薬の国内薬事承認プロセスの整備</li></ul>

# 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 ～「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」の両立～

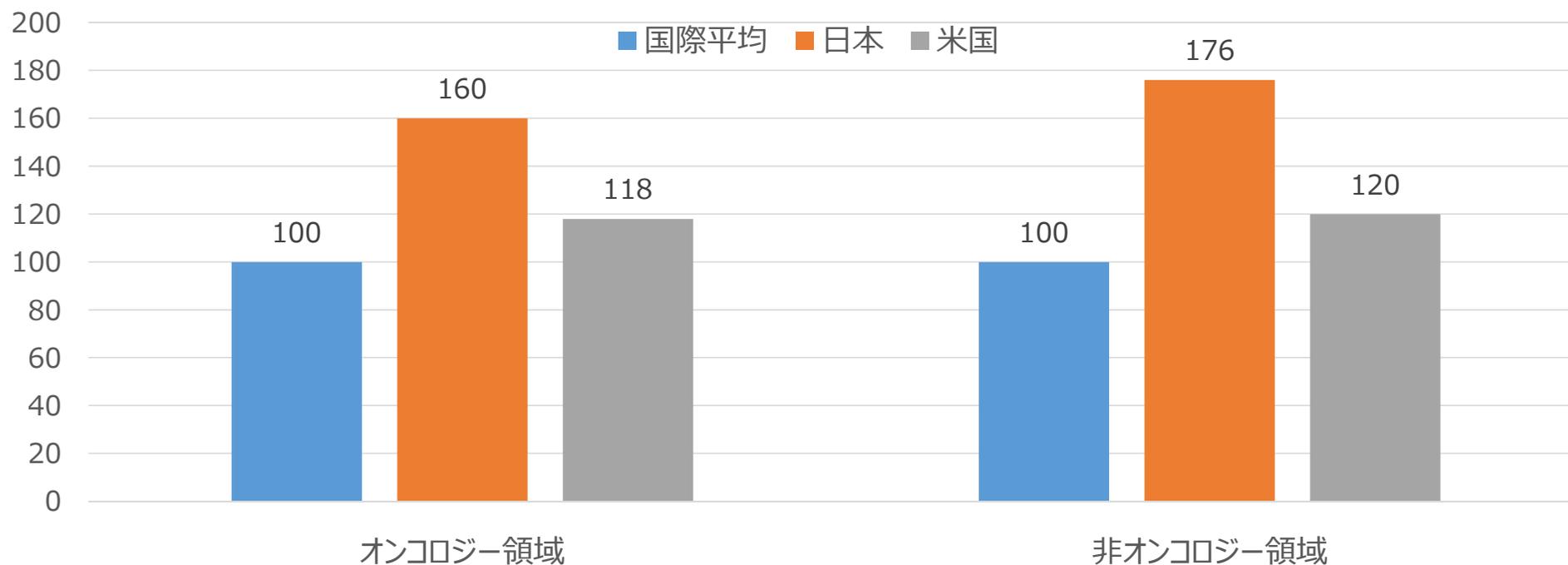
## 具体的に検討すべき項目

「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"><li>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)</li><li>中間年改定の対象範囲の見直し<ul style="list-style-type: none"><li>特許期間中の医薬品の取り扱い</li></ul></li></ul>
	イノベーション評価の強化	<ul style="list-style-type: none"><li>新薬創出加算におけるイノベーションの評価の拡充 (急な運用見直しの是正、対象品目の拡充)</li><li>市販後に得られたエビデンスに基づく有用性評価</li></ul>
	費用対効果評価制度の見直し	<ul style="list-style-type: none"><li>希少疾患(指定難病を含む)に対する医薬品・再生医療等製品は費用対効果評価から除外する原則の徹底</li><li>追加適応に対する費用対効果評価の除外</li></ul>
	流通改善と薬価制度の整合性	<ul style="list-style-type: none"><li>総価取引の是正と、市場における新薬の製品評価を反映した薬価制度 (日本の流通方法の影響による薬価の引下げの解消)</li></ul>

# Back up

# 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-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さ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

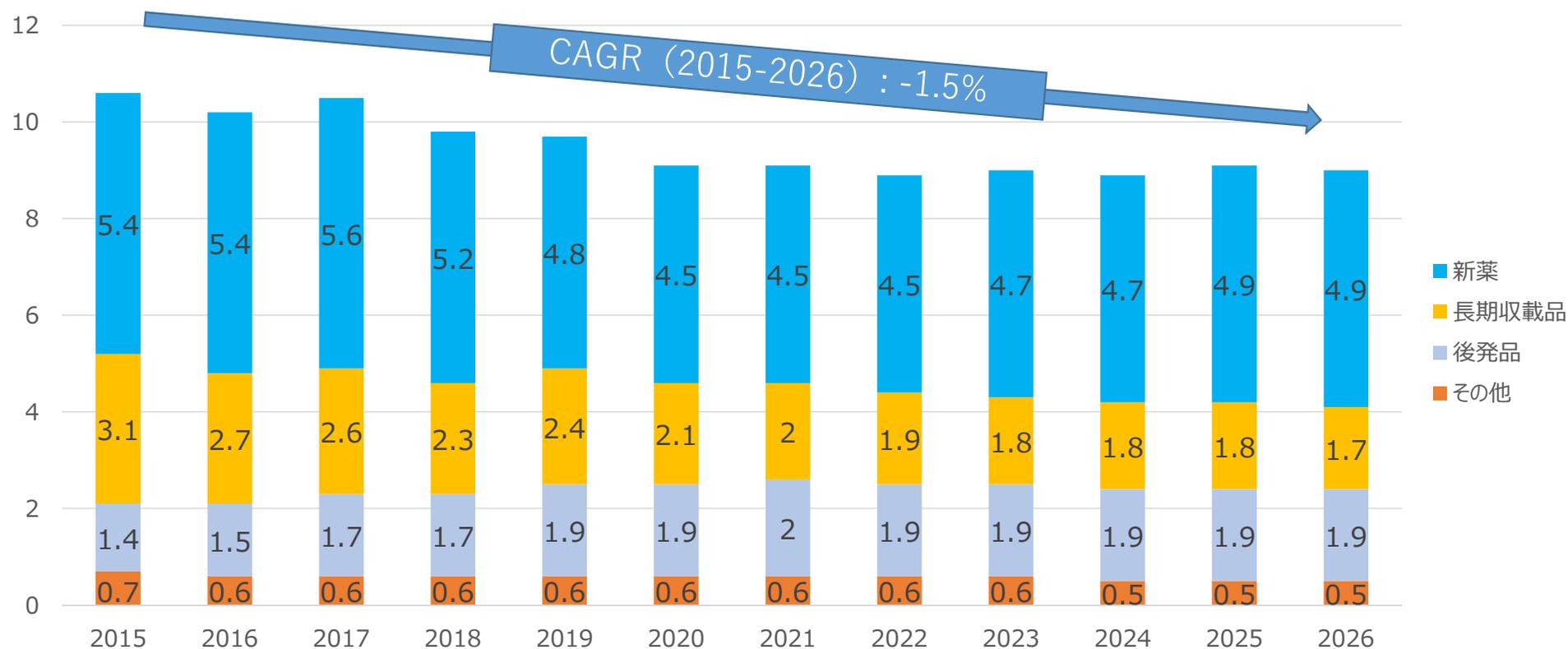
## 2016年以降の度重なる制度変更と厳しい制度設計

- 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[59%]
	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

# 日本市場は唯一のマイナス成長となっている

## — 年平均成長率比較 —

