

革新的医薬品の迅速な導入について

第 6 回 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会

厚生労働省医政局

医薬産業振興・医療情報企画課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

1. 現行制度における課題と論点

(1) 薬価制度改革の経緯について

(2) 新規収載品の薬価算定について

(3) 特許期間中の評価の在り方

(①新薬創出等加算、②市場拡大再算定)

2. 革新的医薬品の迅速な導入に向けた

さらなるインセンティブ等の在り方について

1. 現行制度における課題と論点

(1) 薬価制度改革の経緯について

医薬品のライフサイクル及び課題

薬事承認

薬価収載

特許満了（後発品上市）

供給停止

薬価削除

特許期間：約8年

企業が薬価収載を希望する場合、原則承認後60日以内、遅くとも90日以内に薬価収載（MOSS協議）

研究・開発

新薬

※後発品が収載されない場合

3ヶ月以内の供給開始

新薬

新薬

後発品への置換え時期

Z2

G1/G2/C

5年

5年

後発品価格への引下げ時期

薬価削除までの経過措置期間（翌年3月末）

※後発品が収載された場合

長期収載品

5年間の供給義務

関係団体からの了承があれば市場からの撤退可能

後発医薬品

課題

- ベンチャー企業との連携
- 開発環境（治験等）
- 薬事承認

収載時薬価

新薬創出等加算

後発品への置き換え

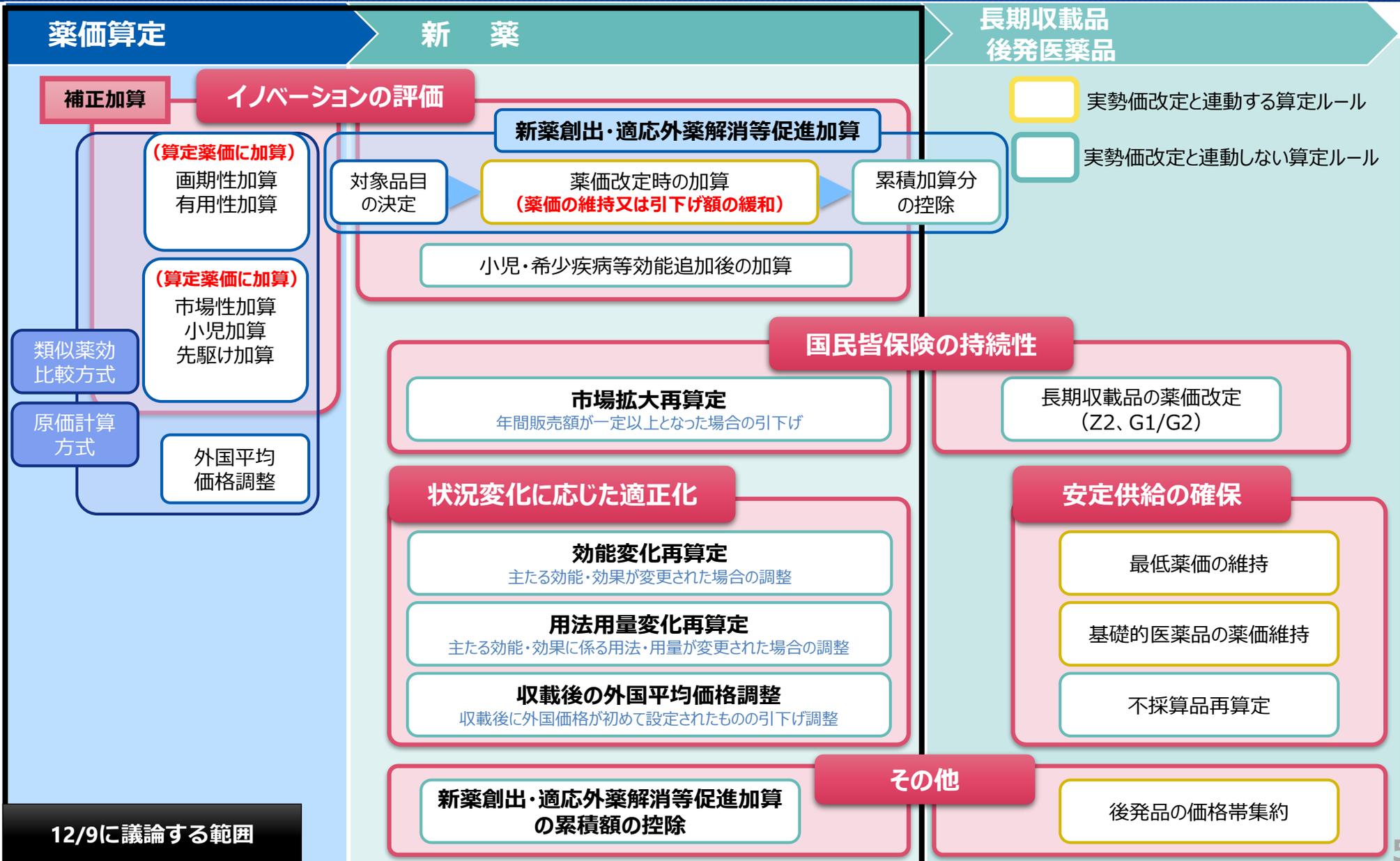
再算定

薬価改定

安定供給

12/9に議論する論点

医薬品のライフサイクルと現行の薬価算定ルール



近年の薬価制度改革

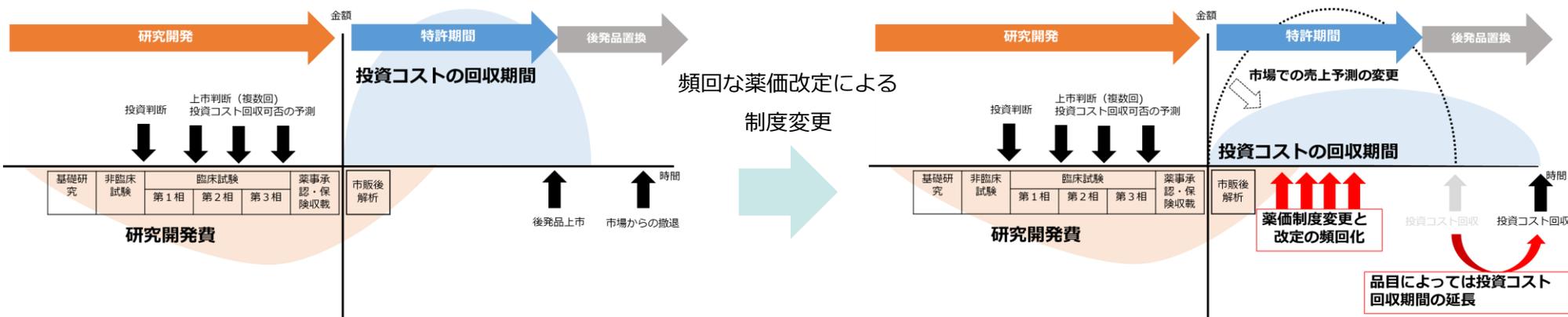
- 昭和62年中医協建議に基づき、おおむね2年に1回の頻度で薬価の全面改定が実施されることとなっている。
- 薬価基準が診療報酬の一部として組み込まれていることや、医薬品による収入が医療機関等の収入構成において一定の役割を果たしていることなどにより、薬価改定に併せて診療報酬改定が実施されることが慣例となっている。
- 近年では、企業経営に直接影響を与えるような、大きな制度改革が2年に1度実施されており、毎年の薬価改定と合わせ、企業体力を奪っているとの指摘がある。一方で、市場規模が非常に大きくなる等の高額な薬剤も開発されてきており、国民皆保険制度の持続を可能とするため、価格の見直し等の方策を随時行っている。

年度	主な薬価制度改革の内容
平成14年	<ul style="list-style-type: none"> • 長期収載品に対する特例引き下げ
平成20年	<ul style="list-style-type: none"> • 市場拡大再算定類似品の見直し
平成20年（平成22年施行）	<ul style="list-style-type: none"> • 改定時3加算（小児適応又は希少疾病の効能追加等に係る加算及び真の臨床的有用性の検証に係る加算）の新設
平成22年	<ul style="list-style-type: none"> • 新薬創出・適応外薬解消等促進加算の試行的導入
平成26年	<ul style="list-style-type: none"> • 後発品への置き換えが進まない場合の特例引き下げ（Z2）の導入、後発品3価格帯導入、外国平均価格調整の適用範囲の見直し（引下げ対象範囲の拡大）
平成28年	<ul style="list-style-type: none"> • 基礎的医薬品に係る措置 • 特例拡大再算定の導入
平成30年	<ul style="list-style-type: none"> • 市場拡大再算定の頻度の見直し（年4回） • 新薬創出等加算の見直し（要件の見直し、企業要件の導入） • 原価計算方式により算定される医薬品への加算の見直し • G1/G2制度による長期収載品の薬価の適正化 • 外国平均価格調整の対象品目の見直し（原価計算方式算定品目、薬理作用類似薬がない品目に限定） • 中間年改定の実施の決定
令和元年	<ul style="list-style-type: none"> • 費用対効果評価制度の導入
令和2年	<ul style="list-style-type: none"> • 薬価改定時に置換え率が80%以上となっている場合、前倒してG1ルールを適用
令和4年	<ul style="list-style-type: none"> • 安定確保医薬品Aを基礎的医薬品に位置付ける • 原価計算方式において、開示率が50%を下回るものは加算を0%とする

薬価制度改革の影響

実態

- 原則として、薬事承認されたものは保険収載される。
- 企業は、上市判断時（概ね第3相臨床試験結果が判明時）までに複数回、投資に対する利益回収可能性を予測し、研究開発の継続と上市の可否を予測している。



課題

- 企業経営に影響を与えるような大きな制度変更が頻回に行われると、当初計画していた投資コスト回収が困難となるリスクが生じる。その結果、日本市場はリスクが高いとして開発を先送りにされる、あるいは他国での開発が優先されるおそれがある。
- また、仮に投資コスト回収期間が延長した場合、企業は投資コスト回収のため、後発品が上市された後も特許満了後の新薬の販売を継続することが必要となり、結果として長期収載品の収益への依存を誘導する一因となることが懸念される。

論点

- 経営や投資計画に影響を与えるような薬価制度改革について、企業の予見性を高めるための方策の検討が必要ではないか。

革新的な医薬品の迅速な導入について

論点

(1) 革新的な医薬品の迅速な導入について

革新的な医薬品については、患者視点に基づいた迅速な導入が図られるよう議論を行う必要がある。

12/9に議論

① 薬価制度を起因とする課題

- 革新的医薬品の国内への迅速な導入を促進するため、企業における予見性の向上を図る観点から、現在の新薬創出等加算や市場拡大再算定の運用や制度の在り方、経営や投資計画に影響を与える薬価改定ルールの改定頻度についてどう考えるべきか。
- 医薬品の開発コストに加え、再生医療等製品を含め、新規モダリティ（治療手段）等のイノベーションや医薬品としての価値を踏まえた適切な薬価の算定を行うためには、どのような考え方・方法により評価を行うことが望ましいか。

② 産業構造やビジネスモデルを起因とする課題

- 長期収載品のカテゴリや製造方法等の実態を踏まえつつ、先発企業が長期収載品から収益を得る構造から脱却し、新薬の研究開発への再投資を促進するための方策について、どのような取組が必要か。
- 今後の成長が期待されているアカデミア・バイオベンチャー企業等におけるシーズの開発・導出を促進するためには、どのような取組が必要か

有識者検討会での主な意見

【企業の予見性を確保することが困難な制度】

- 諸外国と比べて特許期間中にもかかわらず新薬の薬価が早期に下落していく状況は、市場の魅力度の観点から他国に見劣りし、開発における日本の優先順位にも悪影響を与えている。また、研究開発投資を十分に回収できない状況になりつつある。
- 市場拡大再算定は再算定対象品目の類似薬も道連れとなる仕組みがあるが、これは不合理であり、予見性も欠いている。また、不透明かつ複雑な薬価算定ルールや頻回のルール変更が制度を不確実にしており、経営や投資計画が立てられないのではないかと懸念されている。

【欧米に比べ低い薬価が算定される可能性がある制度】

- 場合によっては欧米主要国と比較して著しく低い薬価となることが課題。現在の原価計算方式による価格算定は、適切にイノベーションが評価されているとは言いがたく、より多様な価値を評価する算定方式が必要ではないかと懸念されている。

【先発企業のビジネスモデル上の課題】

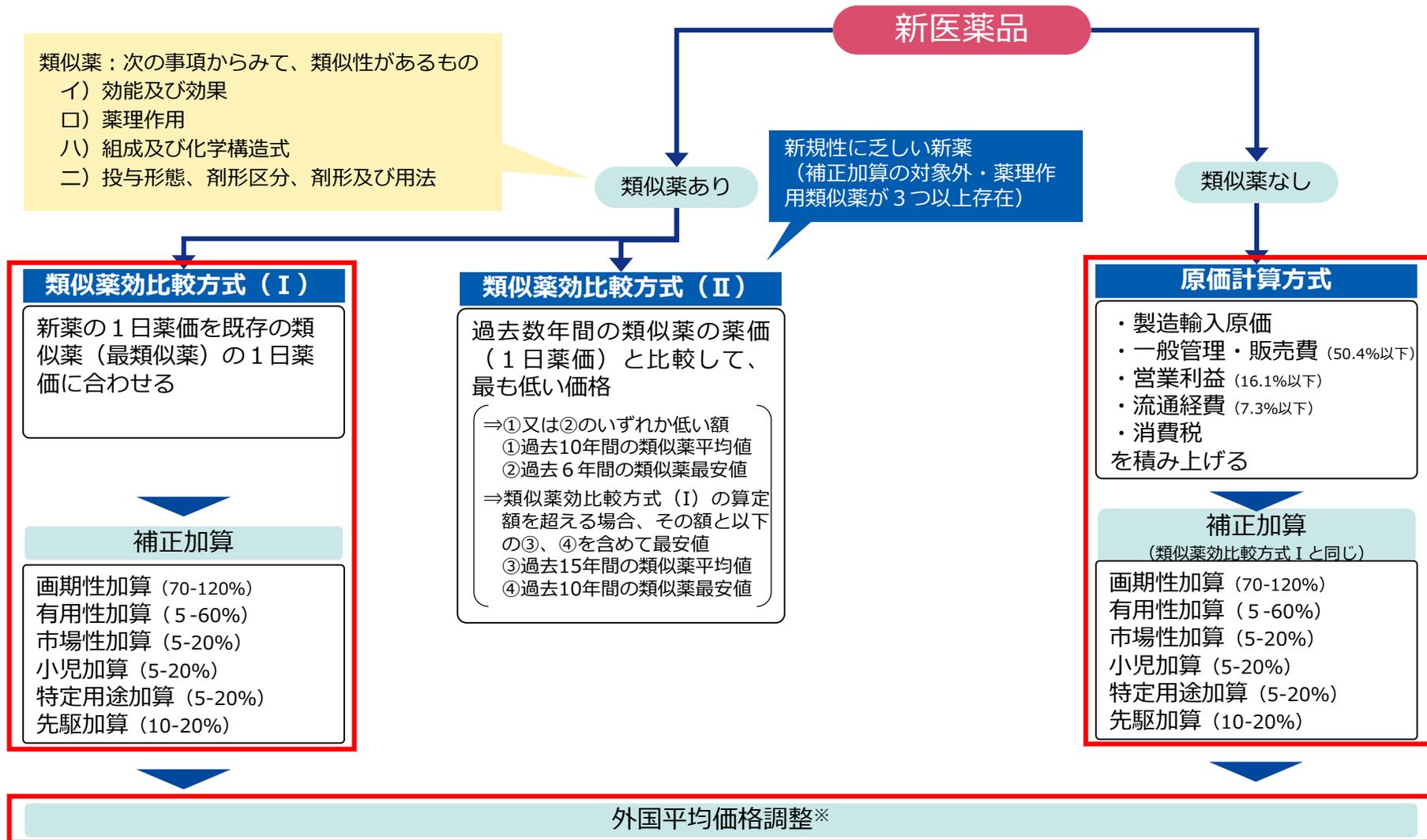
- 先発企業は新薬の研究開発に重点化すべきであるが、後発品の使用促進が進んだ現状においても、長期収載品による収益に依存したビジネスモデルから脱却しきれしていないのではないかと懸念されている。
- 近年、欧米で開発される新薬の多くはアカデミアやベンチャー企業がシーズを創出し、実用化につなげるエコシステムが確立しているが、日本では創薬ベンチャー企業が十分には育っておらず、長期的な育成、支援が必要であると懸念されている。

1. 現行制度における課題と論点

(2) 新規収載品の薬価算定について

新医薬品の薬価算定方式（全体像）

【薬価算定（薬価収載時）の基本的考え方】



類似薬：次の事項からみて、類似性があるもの

- イ) 効能及び効果
- ロ) 薬理作用
- ハ) 組成及び化学構造式
- ニ) 投与形態、剤形区分、剤形及び用法

新規性に乏しい新薬
(補正加算の対象外・薬理作用類似薬が3つ以上存在)

※類似薬効比較方式（Ⅰ）のうち薬理作用類似薬がない場合又は原価計算方式に限る

原価計算方式

【原価計算方式の流れ】

① 類似薬がない場合には、原価計算方式を採用し、原材料費や製造経費などを積算して、収載時の薬価を算定

製品総原価

① 原材料費	(有効成分、添加剤、容器・箱など)
② 労務費	(= 3,680 ^{注1} × 労働時間)
③ 製造経費	
④ 製品製造（輸入）原価	
⑤ 販売費・研究費等	(⑤ / (④ + ⑤ + ⑥) ≤ 0.504 ^{注2})
⑥ 営業利益	(⑥ / (④ + ⑤ + ⑥) = 0.161 ^{注2})
⑦ 流通経費	(⑦ / (④ + ⑤ + ⑥ + ⑦) = 0.073 ^{注3})
⑧ 消費税	(10%)
合計：算定薬価	

ただし、開示度 ≥ 80%の化成品及び開示度 ≥ 80%かつ研究費開発費だけで販管費率上限（50.4%）を超えるバイオ医薬品（ピーク時市場規模が50億円未満に限る）については、販管費率の上限は70%

再生医療等製品については、個々の品目ごとに精査することとし、平均的な係数を用いて算出される額よりも低い場合はその額を用いて算定する。

注1 労務費単価：「毎月勤労統計調査」及び「就労条件総合調査」（厚生労働省）
 注2 一般管理販売費率、営業利益率：「産業別財務データハンドブック」（日本政策投資銀行）
 注3 流通経費率：「医薬品産業実態調査報告書」（厚生労働省医政局経済課）
 上記の数値は、医薬品製造業の平均的な係数（前年度末時点で得られる直近3か年（平成30年～令和2年）の平均値）を用いることが原則

② 既存治療に比べて高い有用性等が客観的に示されている場合、上記の算定薬価に補正加算を加える

革新性・有用性は補正加算で評価している

※ ただし、製品総原価のうち、薬価算定組織での開示が可能な部分の割合（開示度）に応じて、加算率に差を設定

$$\text{加算額} = \text{価格全体} \times \text{加算率} \times \text{加算係数} \\ (\text{加算前価格})$$

開示度※	80%以上	50~80%	50%未満
加算係数	1.0	0.6	0

→ ※開示度 = (開示が可能な薬価部分) ÷ (製品総原価：①+②+③+⑤)

現 状

特に海外導入品の場合、製品総原価に営業利益が含まれているのではとの指摘があり、開示度が50%未満の場合、加算率をゼロとすることで、算定薬価全体の調整が行われている。

※開示率が低い理由（中医協 費薬材-1（H31.2.6）より抜粋）

輸入品のバリューチェーンは複雑で、複数国にまたがり、多くの委託先を経て、製品化されている。委託先における労務経費や製造経費に関して、すべての経費について根拠となる伝票を開示させることは現実的に不可能である。

類似薬効比較方式（Ⅰ）

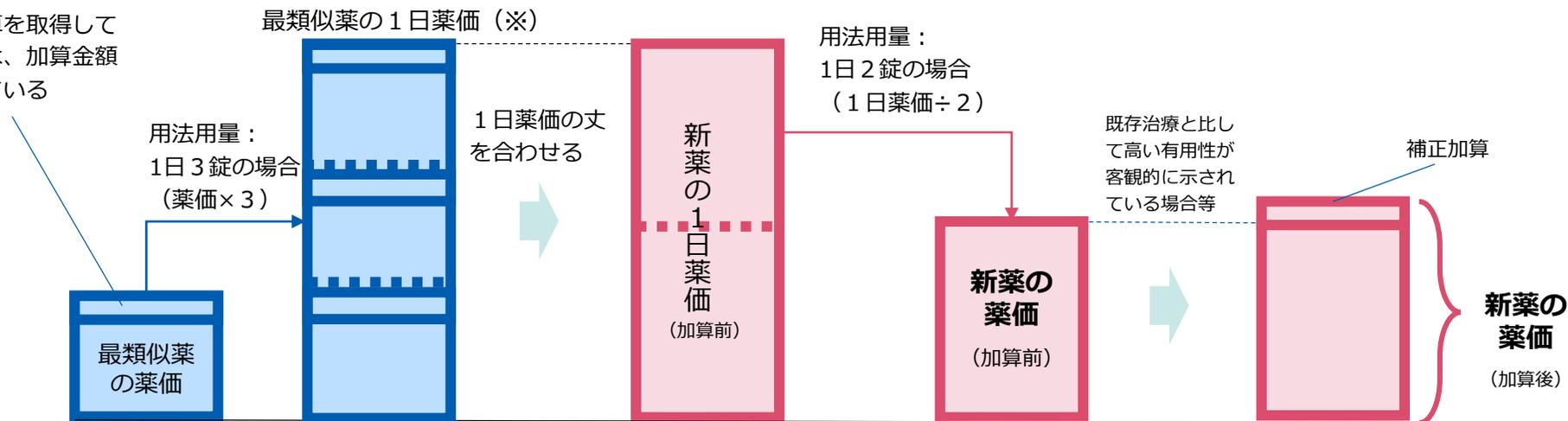
算定ルール

- 新規に薬価基準に収載される新薬に、類似薬※がある場合、市場での公正な競争を確保する観点から、新薬の1日薬価を類似性が最も高い類似薬（最類似薬）の1日薬価に合わせる。
- 当該新薬について、類似薬に比べて高い有用性等が客観的に示されている場合、上記の額に補正加算を行う。

※類似薬：次のイ）～ニ）からみて類似性があるもの イ） 効能及び効果、ロ） 薬理作用、ハ） 組成及び化学構造式、ニ） 投与形態、剤形区分、剤形及び用法

【算定イメージ（例）】

※補正加算を取得している場合は、加算金額が含まれている



（※）治療期間が定められている医薬品（例えば、抗がん剤のような休薬期間が設けられている薬剤など）の場合、1治療期間（1クール）の薬価で丈を合わせることもある。

（例）新薬：1回1錠、1日2回、5日間投与、1週間休薬の12日間を1クール、再類似薬：1回2錠、1日1回、7日間投与、1週間休薬の14日間を1クールとして薬事承認されている医薬品の場合、新薬10錠（5日間分）と比較薬14錠（7日間分）の薬価の丈を合わせ、新薬1錠あたりの薬価を算出する。

補正加算

新薬の薬価収載時において、客観的に評価されたデータ（承認審査で用いられた臨床試験成績等）に基づき、有用性等の程度に応じて加算を行うことで、革新性・有用性を評価している。

※画期性・有用性加算の詳細な項目については、参考資料 p 1 2 を参照

画期性加算（70～120%）

臨床上有用な新規の作用機序を有し、かつ既存治療に比べ高い有効性・安全性を有することを評価

具体的には、要件イ～ハの**全てを満たす**新規収載品

有用性加算（Ⅰ）（35～60%）

臨床上有用な新規の作用機序を有する、又は既存治療に比べ高い有効性・安全性を有することを評価

具体的には、要件イ～ハの**うち2つを満たす**新規収載品

有用性加算（Ⅱ）（5～30%）

臨床上有用な新規の作用機序を有する、既存治療に比べ高い有効性・安全性を有する、又は製剤工夫により既存治療に比べ高い医療上の有用性を有することを評価

具体的には、要件イ～二の**いずれかを満たす**新規収載品

【画期性加算・有用性加算の要件】

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること（初めての標的分子等に作用するなど）
- 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（既存治療で効果不十分な患者に効果があるなど）
- 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（侵襲性が著しく低減されるなど）

※複数の補正加算に該当する場合には、それぞれの加算の割合の和を算定に用いる（再生医療等製品については、市場規模等により加算の割合を補正）。

革新性・有用性を評価

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、対象となる疾病等に係る効能効果が、主たる効能効果であること
- ロ 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（**市場性加算（Ⅰ）、特定用途加算又は小児加算の対象となるものを除く**）

- イ 主たる効能効果が、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 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

特定用途加算（5～20%）

次の要件を全て満たす新規収載品（**市場性加算（Ⅰ）の対象となるものを除く**）

- イ 特定用途医薬品として指定されていること
- ロ 比較薬が特定用途加算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（**市場性加算（Ⅰ）又は特定用途加算の対象となるもの及び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 主たる効能効果又は当該効能効果に係る用法用量に、小児に係るものが明示的に含まれていること
- ロ 比較薬が特定用途加算（小児の疾病の治療等に係る指定を受けた特定用途医薬品について当該加算の対象となった場合に限る）又は小児加算の適用を受けていないこと

先駆加算（10～20%）

先駆的医薬品として指定されたもの（旧制度での指定品目を含む）

市場規模が小さいが医療上の必要性が高い医薬品等

補正加算の変遷

昭和57年に補正加算制度が導入され、平成3年より、

- **革新性の高い医薬品は画期性加算（3%）**
- **既存治療に比べ有効性・安全性が優れている医薬品は有用性加算（3%）**
- **患者数が極めて少ない疾患を対象とした医薬品は市場性加算（3%）**

により評価することとされた。

平成7年以降は、医薬品の価値評価が適切かという議論がなされ、都度加算率の見直しが行われてきた。平成28年の薬価制度改革において、

- **画期性加算（70～120%）**
- **有用性加算（5～60%）**
- **市場性加算（5～20%）**

により評価することとされ、この加算率は現行制度でも概ね同様となっている。

また、画期性加算、有用性加算の要件について、評価が客観的に判断できるよう、平成26年にポイント制が導入された（参考資料12ページ）。

なお、小児用医薬品を開発した場合の加算は、小児加算として平成18年の薬価制度改革で、

世界に先駆けて薬事承認を取得した医薬品には、先駆け審査指定制度加算として、平成26年の薬価制度改革で、

薬機法第77条の2第3項に基づき「特定用途医薬品」として指定された医薬品には、特定用途加算として令和4年度の薬価制度改革で導入された。

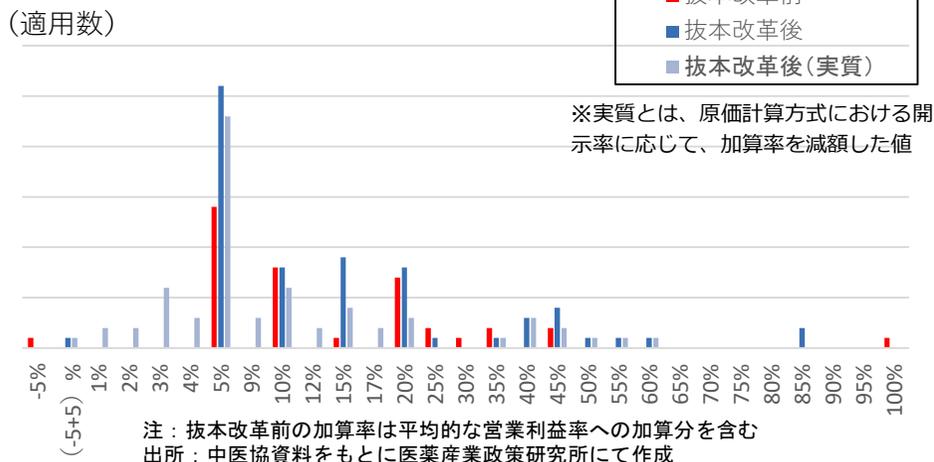
補正加算の加算率と補正加算適用率

現 状

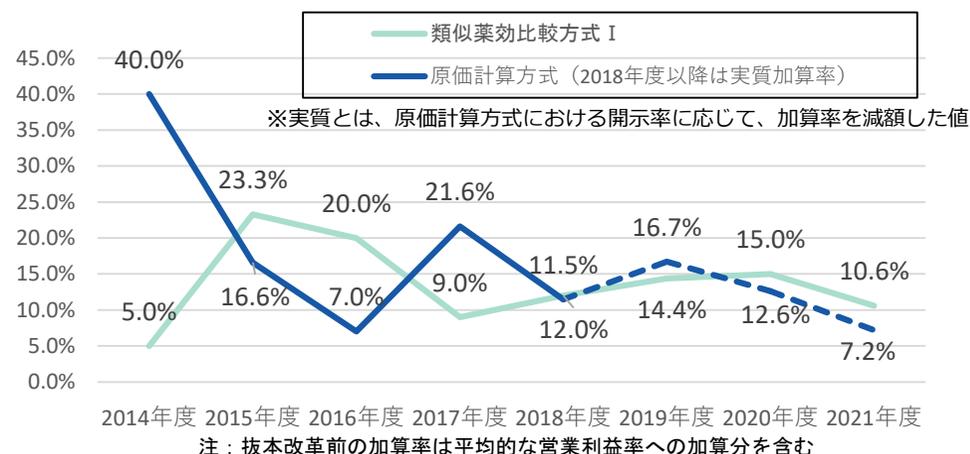
補正加算の加算率と補正加算適用数は、抜本改革（2018年度）前後のいずれも、加算率としては最も低い5%に多くが集中していた。また、補正加算の適用状況を平均値の年次推移で見た場合、2020年度以降は平均値が低下している傾向が見られる。

※2018年4月に行われた抜本改革を起点に、前後3.5年ずつ、2014年10月以降2021年9月までの7年間に新薬として記載された医薬品（再生医療等製品を除く全365成分）について、抜本改革前（171成分）と抜本改革後（194成分）に分けて、調査・分析。

補正加算の加算率と補正加算適用数



補正加算適用率の平均値の年次推移



課 題

- 補正加算については、該当する要件や定量的評価の指標も定められていることに加え、薬価算定結果や薬価算定組織の議事録の公表により、一定の予見性はある。
- 一方で、加算適用の可否については、薬事承認で用いた臨床試験成績（具体的には承認審査における審査報告書で評価された試験成績）における評価により判断されるが、当該報告書は品質・有効性・安全性を確認・評価し、薬事承認の可否を判断するものであるため、「**品質・有効性・安全性を判断するために必要ではないことから必ずしも審査報告書に記載されないデータ**」、「**審査報告書に記載があっても、主要評価項目以外のデータ等であって有用性評価の根拠とされていないデータ**」などについては、結果的に補正加算の判断に使用されない傾向がある。
- また、補正加算の適用にあたっては、既存治療（医薬品以外も含む）がある場合、それと比べて客観的に優れていることをデータで示す必要があるが、例えば、**希少疾患を対象とした医薬品や小児を対象とした医薬品においては、患者数が少ないため他治療群を比較対象とした臨床試験を実施することが困難な場合が多く、既存治療と直接比較して優れていることをデータで示せないことがある。**そのため、**収益性が悪いことなどから、特に開発・上市が望まれる希少疾病用薬等については、画期的・有用性加算を取りにくい傾向がある。**

外国平均価格調整

現 状

- 新医薬品の価格設定に当たっては、外国で既に販売されているものについて、外国価格と著しい乖離が生じないようにするため、収載時において使用実態等を考慮し価格是正を図ることとしてきた。また、価格是正をより適切に行うため、これまで、具体的な調整式、外国平均価格の定義、調整の適用要件等について、累次の薬価制度改革にわたってルールの改善を行ってきた。
- 公正な市場競争を確保する観点から、原価計算方式又は薬理作用類似薬のない品目における類似薬効比較方式において、外国価格との乖離が大きい場合（外国平均価格の1.25倍以上又は0.75倍以下）に、価格の調整を行っている。
- 薬価改定時においては、一定の要件の下引き下げ調整を行うルールはあるが、引き上げ調整を行うルールは存在しない（過去において、日本では欧州に比べ高い薬価が算定されたことが問題視され、引き下げのルールを設ける仕組みとされた）。

算定ルール

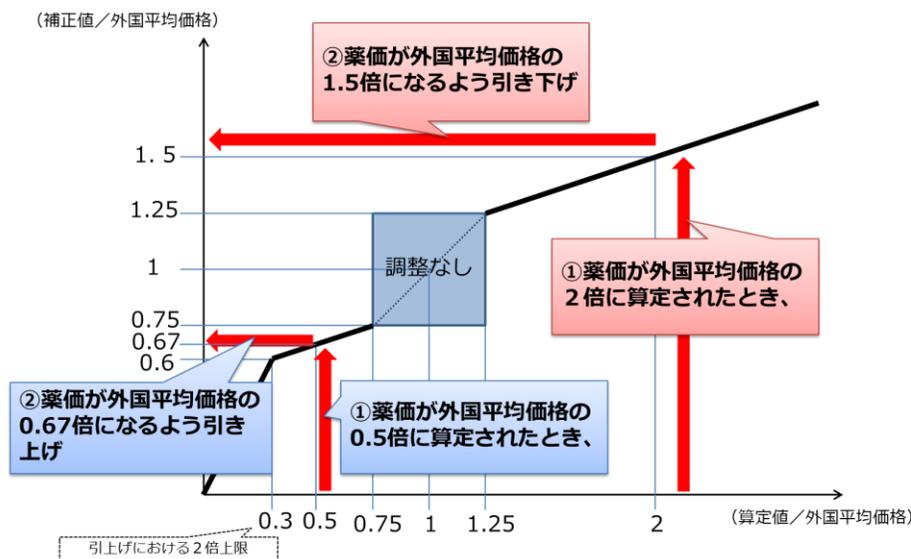
1. 外国平均価格は、米（メディケア・メディケイド）、英、独、仏の価格の平均額

- ※ 外国価格が2か国以上あり、最高価格が最低価格の2.5倍超の場合は、最高価格を除いた外国価格の平均額
- ※ 外国価格が3か国以上あり、最高価格がそれ以外の価格の平均額の2倍超の場合は、最高価格をそれ以外の価格の平均額の2倍とみなして算出した外国価格の平均額

2. 以下の場合に価格調整を実施（外国平均価格に近づける方向に調整）

- ① 外国平均価格の**1.25倍を上回る**場合 → **引下げ**
- ② 外国平均価格の**0.75倍を下回る**場合 → **引上げ**

外国平均価格調整の算定式のイメージ



課 題

外国平均価格調整により引き上げを行うルールがあるのは新規収載時のみであるため、外国価格が日本の薬価と比較して高く算定される傾向のある医薬品分野や、新規性・革新性が高く原価計算方式により算定された医薬品においては、海外複数国で上市した後に日本で薬価収載する方が、外国価格引上調整により高い薬価を算定される可能性が高い。そのため、世界に先駆けて開発された革新的新薬であっても、日本より海外で先に上市することを助長する懸念がある。

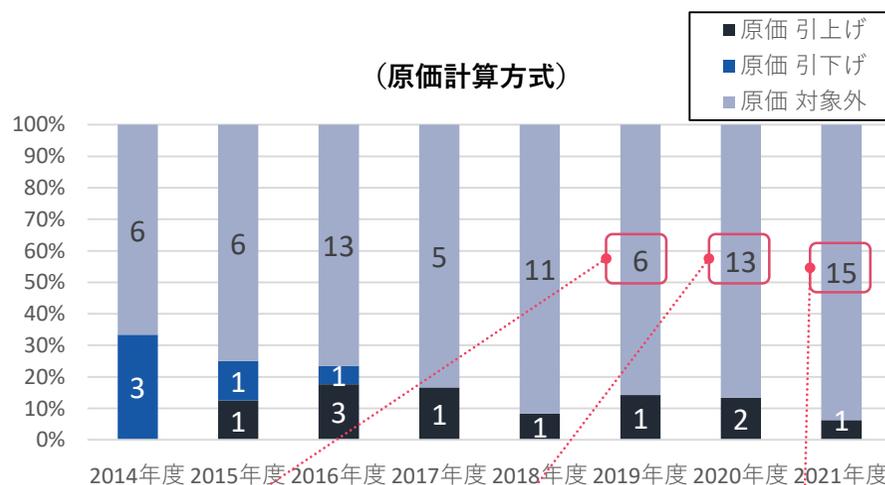
(参考) 外国価格と比較した新薬の薬価

現 状

外国平均価格調整の引上げ、引下げ割合は継続的に低下傾向にあり、収載時の薬価は、外国平均価格の「0.75倍～1.25倍」で推移している。

※2018年4月に行われた抜本改革を起点に、前後3.5年ずつ、2014年10月以降2021年9月までの7年間に新薬として収載された医薬品（再生医療等製品を除く全365成分）について、抜本改革前（171成分）と抜本改革後（194成分）に分けて、調査・分析。

外国平均価格調整適用状況



算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：3.6%

低い：2.3%

外国平均価格無し：4.1%

算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：0%

低い：2.5%

外国平均価格無し：7.5%

算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：5%

低い：3.2%

外国平均価格無し：6.3%

算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：1.7%

低い：1.7%

外国平均価格無し：6.7%

算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：8%

低い：8%

外国平均価格無し：8.5%

算定薬価が外国平均価格に比べて

高い：7%

低い：3.3%

外国平均価格無し：6.0%

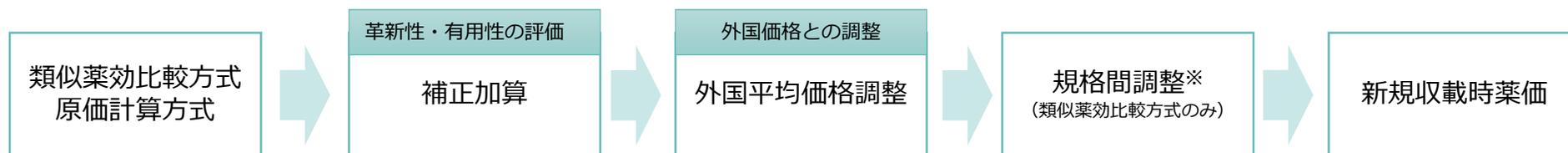
新規収載時の薬価に係る課題について

現 状

現行制度においては、以下の適用順に従って、新薬の収載時薬価を決定している。

革新性・有用性の評価は「補正加算」において、外国価格との差は「外国平均価格調整」において、調整している。

新薬の新規収載時における各制度の適用順（イメージ）



※複数の規格が存在する際、複数規格を持つ類似薬における規格間の薬価と含有量の関係を基準にして調整することにより、各規格の薬価を算出する方法。

現在生じている課題の整理

補正加算

- 加算適用の可否については、薬事承認で用いた臨床試験成績（具体的には承認審査における審査報告書で評価された試験成績）における評価により判断されるが、当該報告書は品質・有効性・安全性を確認・評価し、薬事承認の可否を判断するものであるため、**「品質・有効性・安全性を判断するために必要ではないことから必ずしも審査報告書に記載されないデータ」、****「審査報告書に記載があっても、主要評価項目以外のデータ等であって有用性評価の根拠とされていないデータ」**などについては、**結果的に補正加算の判断に使用されない傾向がある。**
- また、補正加算の適用にあたっては、既存治療（医薬品以外も含む）がある場合、それと比べて客観的に優れていることをデータで示す必要があるが、例えば、**希少疾患を対象とした医薬品や小児を対象とした医薬品においては、患者数が少ないため他治療群を比較対象とした臨床試験を実施することが困難な場合が多く、既存治療と直接比較して優れていることをデータで示せないことがある。**そのため、収益性が悪いことなどから、**特に開発・上市が望まれる希少疾病用薬等については、画期性・有用性加算を取りにくい傾向がある。**

外国平均価格調整

外国平均価格調整により引き上げを行うルールがあるのは新規収載時のみであるため、外国価格が日本の薬価と比較して高く算定される傾向のある医薬品分野や、新規性・革新性が高く原価計算方式により算定された医薬品においては、海外複数国で上市した後に日本で薬価収載する方が、外国価格引上調整により高い薬価を算定される可能性が高い。そのため、**世界に先駆けて開発された革新的新薬であっても、日本より海外で先に上市することを助長する懸念がある。**

革新的新薬の新規収載時薬価に係る論点

【補正加算】

- 薬事承認における品質・有効性・安全性に係る評価と、薬価算定における革新性・有用性の評価は、目的が異なることから、結果として、評価対象・範囲が必ずしも一致しない。薬事承認のために提出されたデータをもとに、革新性・有用性を判断することには限界がある。特に希少疾患や小児を対象とした医薬品や再生医療等製品においては、客観的に評価できるデータに限りがあるため、このような医薬品における革新性・有用性を適切に評価するためには、補正加算の在り方や仕組みについて新たな検討が必要ではないか。

【外国平均価格調整】

- 海外で先に上市することを助長する懸念を解消するために、薬価収載後の外国平均価格調整の在り方について検討してはどうか。

(参考) 欧米の新薬の保険収載時の価格決定に係る仕組み

	米	英	独	仏	日本
(参考) 医療保険制度	公的/民間保険	国 (NHS) による国民皆保障 (税方式)	公的/民間保険による国民皆保険 (社会保険)	公的/民間保険による国民皆保険 (社会保険)	公的保険による国民皆保険 (社会保険)
新薬の保険収載時の価格決定	各保険者ごとに、 <u>企業との交渉により決定</u>	費用対効果評価の結果、 <u>収載可となれば、企業が一定の利益率の範囲内で自由にリスト価格を設定</u>	当初は、自由価格で販売し、 <u>追加的有用性評価後、国と企業の交渉により決定</u>	費用対効果評価後、 <u>国と企業の交渉により決定</u> ※ 費用対効果評価に基づき、償還割合も決定	類似薬効比較方式 (1日の薬価を類似薬と揃える) 又は原価計算方式でルールに基づき決定
新薬の収載後の価格見直し	<u>適応追加や類似の医薬品の価格変更が発生した場合、事項に応じて保険者と企業で再交渉</u>	一定の利益率の範囲内で企業が自由に薬価を設定	<u>適応追加があった場合に有用性評価を行い、国と企業で再交渉</u>	<u>5年ごとに有用性評価の結果に基づき、国と企業で再交渉</u>	<u>1年ごとに市場実勢価格に基づく見直し</u> ※ 2021年度改定は市場実勢価格と薬価との乖離が大きい品目を対象 ※ 新薬創出等加算の対象の新薬は、一定程度薬価が維持
その他		一定の売上成長率を超えた分は、 <u>企業がNHSに払い戻す。</u>		全体の薬剤費支出が目標額を超えた場合、 <u>企業が還付金を金庫に支払う。</u>	予測を超えて大幅に市場が拡大した場合は、 <u>拡大率に応じて薬価を引き下げる。</u>

※医療経済研究機構調べ (令和2年3月)

1. 現行制度における課題と論点

(3) 特許期間中の評価の在り方

(①新薬創出等加算、②市場拡大再算定)

新薬創出・適応外薬解消等促進加算の変遷①

平成22年度薬価制度改革（新薬創出・適応外薬解消等促進加算の試行的導入）

ドラッグ・ラグ（開発ラグ）が社会的な問題とされた

薬価改定による薬価引き下げが開発コスト等の回収の遅れにつながり、ドラッグ・ラグに影響しているとの指摘があった。そのため、市場における評価を重視し、薬価調査における加重平均乖離率の範囲内の新薬を対象に、薬価を維持する仕組みを導入。

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に基づく開発要請に対して合理的な理由が無く対応しない製薬企業の製造販売する新薬を除外するため、以下の要件を設定。

品目要件

- ① 後発品が上市されていない新薬
- ② 乖離率が全既収載医薬品の加重平均乖離率を超えないもの

企業要件

過去に、厚生労働省から開発要請を受けた企業、開発公募に対応した企業が対象（開発要請に適切に対応しない企業は対象から除外）

ドラッグ・ラグの解消に効果あり

平成26年度薬価制度改革（新薬創出・適応外薬解消等促進加算の試行的導入）

開発要請等を受けていない製薬企業が、新薬創出等加算を受けており、企業間での不公平感が指摘された

「未承認薬・適応外薬の開発要請品目及び公募品目」の研究・開発を行う、もしくは、「真に医療の質の向上に貢献する医薬品」の研究・開発を行っている企業に限定して新薬創出等加算を付与する規定を導入。

品目要件

従前制度より変更無し

企業要件

過去に、厚生労働省から開発要請を受けた企業、開発公募に対応した企業が対象（開発要請に適切に対応しない企業は対象から除外）

もしくは

真に医療の質の向上に貢献する医薬品（①小児、オーファン領域や②既存の治療薬では十分な効果が得られない疾患）の研究開発を行っている企業

新薬創出・適応外薬解消等促進加算の変遷②

ドラッグ・ラグの一定の解消に寄与

平成30年度薬価制度改革（新薬創出・適応外薬解消等促進加算の本格導入）

企業要件さえ満たせば、事実上、全ての新薬が対象となり、革新性の低い医薬品も薬価が維持されること、乖離率が平均以下という品目要件があることで、対象外になることを回避したい企業が仕切価を高く設定し、価格が高止まりしているとの指摘があった。

平成24年度に導入した企業要件「真に医療の質の向上に貢献する医薬品の研究開発を行っている企業」を撤廃し、品目要件として、真に革新性・有用性のある品目に限定する仕組みを導入した。あわせて、乖離率が平均以下という品目要件については、「革新性・有効性を評価するものでないこと」、「仕切価が高く設定され価格の高止まりにつながっていること」を踏まえ、廃止。

品目要件

- ① 希少疾病用医薬品
- ② 開発公募品
- ③ 加算適用品（画期性加算、有用性加算、営業利益率の補正加算、真の臨床的有用性の検証に係る加算）
- ④ 新規作用機序医薬品等

革新的新薬開発やドラッグ・ラグ解消に取り組むインセンティブとするため、革新的新薬の開発やドラッグ・ラグ解消の実績・取組に関するものとして、革新的新薬創出・ドラッグ・ラグ対策に関する指標を設定し、指標の達成度・実績に応じて加算率の傾斜（0.8～1.0）を決定する評価制度を導入した。

企業要件

国が適応外薬等の開発を要請した企業にあつては、その開発に取り組むこと（開発要請に適切に対応しない企業は対象から除外）

企業指標

以下の指標に基づき評価し、達成度・実績に応じ加算率の傾斜を決定

- ① 革新的新薬創出の実績・取組
- ② 革新的新薬や適応外薬等のドラッグ・ラグ解消の実績・取組
- ③ 世界に先駆けた新薬の開発

※企業指標を設けることで、企業競争を促し、業界再編を図るといった産業政策の一面もあるが、今後の医薬品産業のあり方を検討する場で議論予定

令和4年度では、再びドラッグ・ラグの再燃が懸念されている

新薬創出・適応外薬解消等促進加算の現状について（品目要件）

現 状

薬価改定による薬価引き下げが開発コスト等の回収の遅れに繋がり、ドラッグ・ラグに影響しているとの指摘を踏まえ、薬価を維持することで、研究開発コストの回収が困難な医薬品を含め、革新性・有用性の高い医薬品の研究開発を促進する制度として導入された。

真に有効な医薬品を適切に見極めてイノベーションを評価し、研究開発投資の促進を図るため、新薬創出等加算の対象品目は、真に革新性・有用性の高い医薬品に限定されており、以下の①～⑧のいずれかの要件を満たすものとされている。

【新薬創出等加算の品目要件】

- ① 画期性加算、有用性加算、営業利益率補正がなされた医薬品（これらの加算に相当する効能追加があったものを含む）
- ② 開発公募品
- ③ 希少疾病用医薬品
- ④ 新規作用機序医薬品（基準に照らして革新性、有用性が認められるものに限る。）
- ⑤ 新規作用機序医薬品から3年以内・3番手以内であり新規作用機序医薬品が加算適用品又は基準該当品
- ⑥ 先駆的医薬品
- ⑦ 特定用途医薬品
- ⑧ 薬剤耐性菌の治療薬

※①の画期性加算及び有用性加算（p 13参照）については、新薬創出に係るイノベーションを評価する仕組みとして、有用性等の程度に応じて加算を行うもの。

※④の新規作用機序医薬品の要件については、参考資料 p 5 を参照。

※⑤の「3年以内・3番手以内」については、以下に基づき設定されていると考えられる。

- ・ 3年以内の薬価収載であれば、1番手とほぼ同時期に研究開発や臨床試験などが行われており、1番手と同等の研究開発リスクが生じることから、新薬創出等加算の対象として指定。（中医協薬－3 29.12.20）
- ・ 薬理作用類似薬3番手以内であれば、類似薬効比較方式（I）で薬価算定されることから、3番手以内であれば新規性があると整理されている。

※⑥の先駆的医薬品については、世界に先駆けて日本で承認を取得したもの

新薬創出・適応外薬解消等促進加算の現状について（企業要件）

現 状

現在の企業要件は、以下の指標に基づき、ポイント制で評価され、合計ポイントの上位25%が、薬価を維持できる仕組みとなっている。

企業要件は、製薬企業が更なる革新的新薬開発やドラッグ・ラグ解消に取り組むインセンティブとするため、革新的新薬の開発やドラッグ・ラグ解消の実績・取組みに関するものとして、革新的新薬の開発やドラッグ・ラグ解消の実績・取組等に関する指標を設定し、指標の達成度・充足度に応じて、加算にメリハリをつける仕組みであり、平成30年度に導入された。

新薬創出等加算の企業要件

	指標の内容	
A-1	国内試験（日本を含む国際共同試験を含む）（実施数）（Phase II以降）	上位25% 4pt 中位50% 2pt
A-2	新薬収載実績（収載成分数※1）（過去5年）	上位25% 4pt 中位50% 2pt
A-3	革新的新薬の収載実績（過去5年）	実績あり 2pt
A-4	薬剤耐性菌の治療薬の収載実績（過去5年）	1品目について2pt
A-5 新設	新型コロナウイルスの治療等に用いる医薬品（過去5年）	1品目について4pt
B-1	開発公募品（開発着手数）（過去5年）（B-2分を除く）	1品目について2pt
B-2	開発公募品（承認取得数）（過去5年）	1品目について2pt
C-1	世界に先駆けた新薬の開発（品目数）（過去5年）	1品目について2pt
C-2 新設	特定の用途に係る医薬品の開発（品目数）（過去5年）（A-4分を除く）	1品目について2pt

区分	I	II	III
範囲	上位25%	I、III以外	2pt以下
加算係数	1.0	0.9	0.8

〈医療系ベンチャーの取り扱い〉

以下の要件に該当する企業は区分IIとする。

- 中小企業であること（従業員数300人以下又は資本3億円以下）
- 他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと
- 複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと
- 新薬創出等加算の対象となる成分が1つのみであって、当該品目の承認のあった年の全事業年度（過去5年間に限る）において、当該利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと

※ A-5については、新型コロナウイルスによる感染症の治療又は予防に用いるもので、薬事審査において新型コロナウイルスによる感染症に対する治療又は予防効果が明確になったものに限り、ワクチンを含む。

※ C-1については、先駆的医薬品の指定数とする。

※ C-2については、特定用途医薬品の指定数とする。

課 題

- 現在の企業要件制度は、多くの新薬創出等加算対象品目の薬価を下げる仕組みとして働き、日本市場の魅力低下に繋がっているとの指摘がある。
- また、多数品目を取り扱う大企業に有利な制度であり、現在の開発主体となりつつあるベンチャー企業等の少数品目を扱う企業にとっては、区分Iを取りにくい制度となっている。そのため、ベンチャー企業が開発の中心となった場合、現行制度の考え方は実態と合わなくなる。

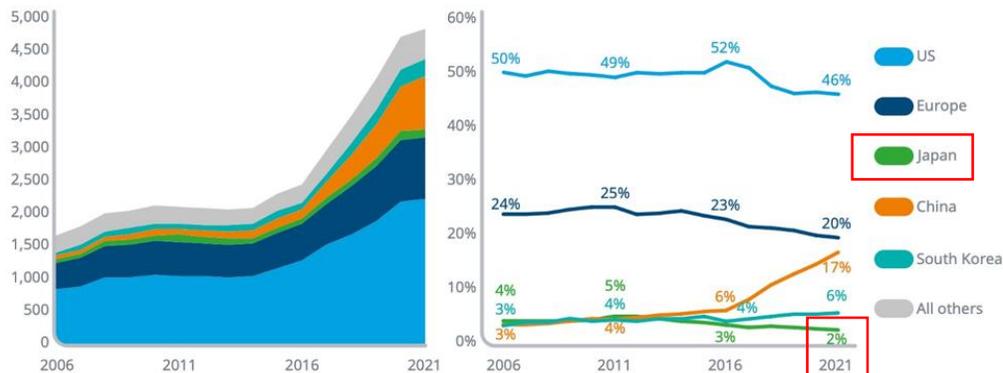
スタートアップ企業における医薬品開発及びFDAでの承認状況

現 状

- 世界では、スタートアップ企業が医薬品開発の主流となってきたが、日本では2%に過ぎない。
- また、スタートアップ企業自らが、FDAで薬事承認を取得するケースが増えてきている。

Emerging biopharma drug development is rising rapidly, particularly in China, whose share has added 11% in 5 years

Exhibit 42: Number of drugs and country share of emerging biopharma pipeline Phase I to regulatory submission based on company headquarter location, 2006-2021



Source: IQVIA Pipeline Intelligence, Dec 2021; IQVIA Institute, Jan 2022.

EMERGING BIOPHARMA CONTRIBUTION TO R&D

Emerging biopharma companies originated 53% of new drugs in 2021 and launched 76% of them, reflecting rising independence

Exhibit 44: Companies originating and filing FDA regulatory submissions for NASs and percent of launches by NAS launch year



Source: IQVIA Institute, Jan 2022.

IQVIA INSTITUTE , Global Trends in R&D: Overview through 2021をもとに作成

欧米の薬価見直しの仕組み

	米	英	独	仏	日本
(参考) 医療保険制度	公的/民間保険	国(NHS)による国民皆保障(税方式)	公的/民間保険による国民皆保険(社会保険)	公的/民間保険による国民皆保険(社会保険)	公的保険による国民皆保険(社会保険)
新薬の保険収載時の価格決定	各保険者ごとに、 <u>企業との交渉により決定</u>	費用対効果評価の結果、 <u>収載可となれば、企業が一定の利益率の範囲内で自由にリスト価格を設定</u>	当初は、自由価格で販売し、 <u>追加的有用性評価後、国と企業の交渉により決定</u>	費用対効果評価後、 <u>国と企業の交渉により決定</u> ※ 費用対効果評価に基づき、償還割合も決定	類似薬効比較方式(1日の薬価を類似薬と揃える)又は原価計算方式で <u>ルールに基づき決定</u>
新薬の収載後の価格見直し	<u>適応追加や類似の医薬品の価格変更が発生した場合、事項に応じて保険者と企業で再交渉</u>	一定の利益率の範囲内で企業が自由に薬価を設定	<u>適応追加があった場合に有用性評価を行い、国と企業で再交渉</u>	<u>5年ごとに有用性評価の結果に基づき、国と企業で再交渉</u>	<u>1年ごとに市場実勢価格に基づく見直し</u> ※ 2021年度改定は市場実勢価格と薬価との乖離が大きい品目を対象 ※ 新薬創出等加算の対象の新薬は、一定程度薬価が維持
その他		一定の売上成長率を超えた分は、 <u>企業がNHSに払い戻す。</u>		全体の薬剤費支出が目標額を超えた場合、 <u>企業が還付金を金庫に支払う。</u>	予測を超えて大幅に市場が拡大した場合は、 <u>拡大率に応じて薬価を引き下げる。</u>

※医療経済研究機構調べ(令和2年3月)

新薬創出等加算の検討に係る論点

- 日本市場の魅力を向上させ、革新的医薬品の早期上市を図るため、海外の制度と同様に、特許期間中の薬価を維持できるような仕組みについて検討してはどうか。
- 既存の新薬創出等加算の枠組みで考える場合、革新性・有用性の高い医薬品の開発を行う主流となりつつあるベンチャー企業発の新薬を早期に導入できるよう、それを促進するような企業要件の在り方を検討してはどうか。

1. 現行制度における課題と論点

(3) 特許期間中の評価の在り方

(①新薬創出等加算、②市場拡大再算定)

市場拡大再算定

【意義】

- 国民皆保険の維持を目的に、薬価改定の際、薬価収載時の前提条件が変化し、市場規模が予想に比べて一定以上拡大した医薬品について、拡大率に応じて薬価を引き下げる。

【対象】

- 薬価収載時の前提条件が変化し※、当初の予想を超えて売上げが拡大した医薬品（市場拡大再算定）
- 主たる適応の用法・用量に変更があった医薬品（用法用量変化再算定）
- 主たる適応が変更された医薬品で、変更後の適応に類似薬があるもの（効能変化再算定）

※原価計算方式で算定された品目は市場規模を勘案し算定されることから売上の拡大等があった場合、それ以外は使用方法、適用患者の変化等があった場合

【海外における仕組み】

- 英、仏においては、日本と同様、大幅に市場拡大した場合、支出を抑制する制度を有している

	米	英	独	仏	日本
（参考） 医療保険制度	公的/民間保険	国（NHS）による国民皆保障（税方式）	公的/民間保険による国民皆保険（社会保険）	公的/民間保険による国民皆保険（社会保険）	公的保険による国民皆保険（社会保険）
市場が拡大した場合の制度		一定の売上成長率を超えた分は、 <u>企業がNHSに払い戻す。</u>		全体の薬剤費支出が目標額を超えた場合、 <u>企業が還付金を金庫に支払う。</u>	予測を超えて大幅に市場が拡大した場合は、 <u>拡大率に応じて薬価を引き下げる。</u>

※用語の説明：類似薬、薬理作用類似薬、比較薬の関係について

類似薬の範囲

類似薬とは、既記載品のうち、次に掲げる事項からみて類似性があると認められるもの。

※ (イ) ~ (二) の全てが一致する必要は無い

(イ) 効能及び効果、(ロ) 薬理作用、(ハ) 組成及び化学構造式、(ニ) 投与形態、剤形区分、剤形及び用法

比較薬（最類似薬）の範囲

比較薬とは、新規記載品の薬価算定上の基準となる既記載品をいう。

新規記載品の薬価算定では、最類似薬（類似薬の中から最も類似するもの）を比較薬として、類似薬効比較方式で算定する場合がある

（類似薬効比較方式で算定しない場合は原価計算や規格間調整等により算定）。

薬理作用類似薬の範囲

薬理作用類似薬とは、類似薬のうち、次の要件を全て満たす既記載品をいう。

イ 同一の効能及び効果を有するものであって、当該効能及び効果に係る薬理作用が類似しているものであること。

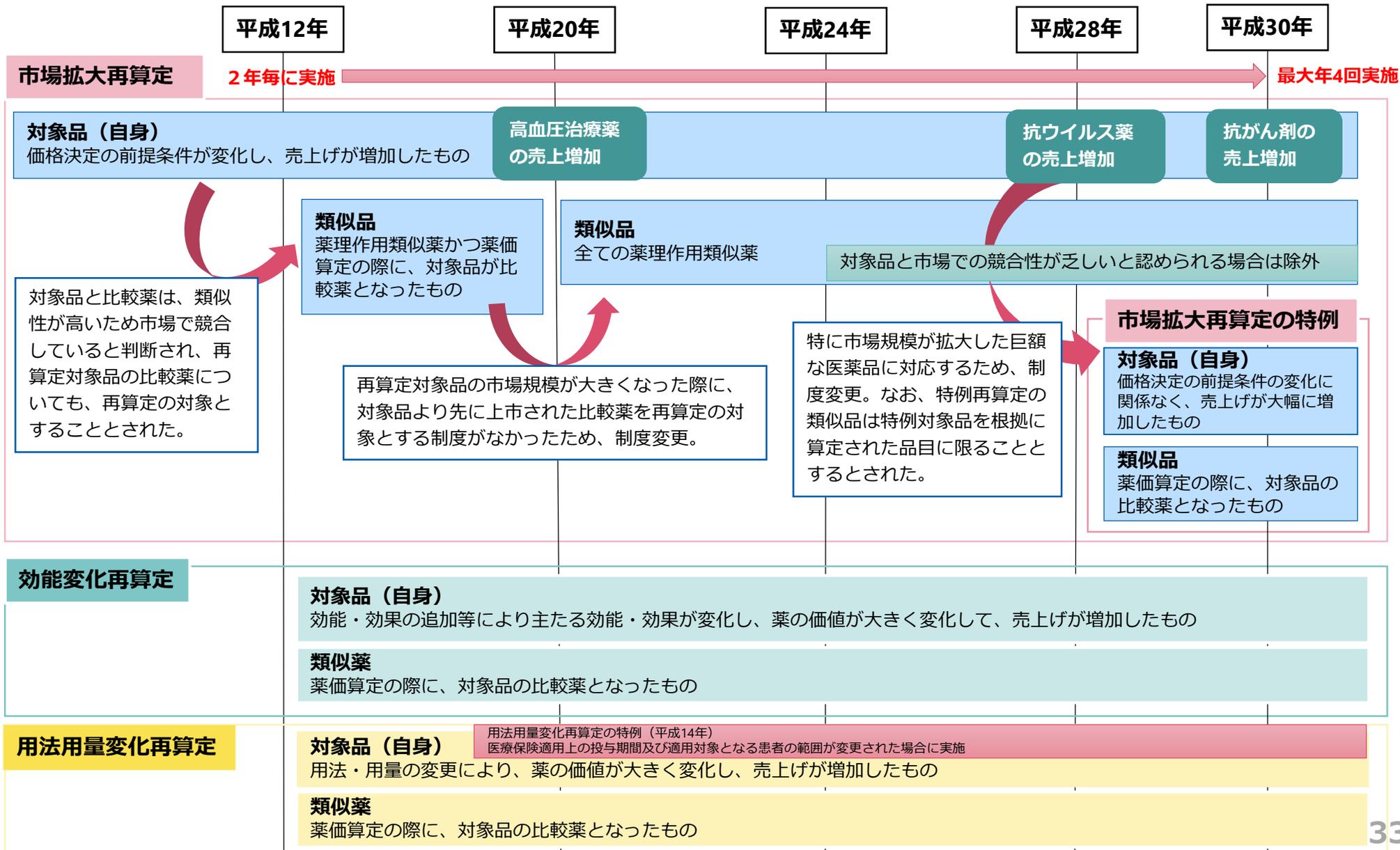
ロ 投与形態が同一であること。

- ・「比較薬」は1品目しか存在しないが、「薬理作用類似薬」は複数品目存在する。
- ・「比較薬」は、「類似薬」の中から決定するが、必ずしも「薬理作用類似薬」が「比較薬」となるわけではない。

再算定の種類と対象

種類		再算定の対象となる基準	再算定の対象となる類似品	薬価引下率	実施時期
市場拡大再算定	通常	<ul style="list-style-type: none"> 薬価収載時の前提条件に変化があった医薬品 当初の<u>予想を超えて売上げが大きく拡大</u>した医薬品 <p>年間販売額が100億円～350億円以上</p>	<ul style="list-style-type: none"> 再算定対象品の<u>薬理作用類似薬</u> 再算定対象品及び再算定類似品と<u>組成が同一</u> <p>※再算定対象品と市場における競合性が乏しいと認められるものは除く</p>	<ul style="list-style-type: none"> 市場規模の拡大率に応じて、薬価を10～25%引き下げ 	<ul style="list-style-type: none"> 市場規模の拡大率に応じて、2年毎の薬価改定時又は新薬収載のタイミング（四半期）で実施
	特例	<ul style="list-style-type: none"> 当初の<u>予想を超えて売上げが大きく拡大</u>した医薬品 <p>年間販売額が1,000億円～1,500億円以上</p>	<p><u>薬理作用類似薬であって次のいずれかに該当</u>するもの</p> <ul style="list-style-type: none"> 薬価収載の際の<u>比較薬</u>が【特例】対象品 薬価収載の際の<u>比較薬</u>が【特例】類似品 【特例】対象品又は【特例】類似品と<u>組成が同一</u> <p>※再算定対象品と市場における競合性が乏しいと認められるものは除く</p>	<ul style="list-style-type: none"> 市場規模の拡大率に応じて、薬価を10～50%引き下げ 	
用法用量変化再算定		<ul style="list-style-type: none"> 主たる適応の用法・用量に<u>変更</u>があった医薬品 	<ul style="list-style-type: none"> 再算定対象品（類似品を含む。）が薬価収載の際の<u>比較薬である医薬品</u>（用法及び用量の変更に比較薬とした場合に限る。） 	<ul style="list-style-type: none"> 変更前後で、1日薬価が同額となるよう再算定 改定率の上限なし 	<ul style="list-style-type: none"> 2年毎の薬価改定時又は新薬収載のタイミング（四半期）で実施
効能変化再算定		<ul style="list-style-type: none"> 主たる適応が変更された医薬品で、<u>変更後の適応に類似薬があるもの</u> 中でも市場規模が著しく拡大する場合などには【特例】を適用 	<ul style="list-style-type: none"> 効能変化品と組成、<u>剤形区分及び投与形態が同一の非汎用規格の既収載品</u> 効能変化再算定実施後に、効能変化品と組成及び同様形態が同一である類似薬について、同様の効能変化等があった既収載品 	<ul style="list-style-type: none"> 変更後の効能・効果の類似薬の価格に近づくよう再算定 改定率の上限なし 	<ul style="list-style-type: none"> 2年毎の薬価改定時又は新薬収載のタイミング（四半期）で実施

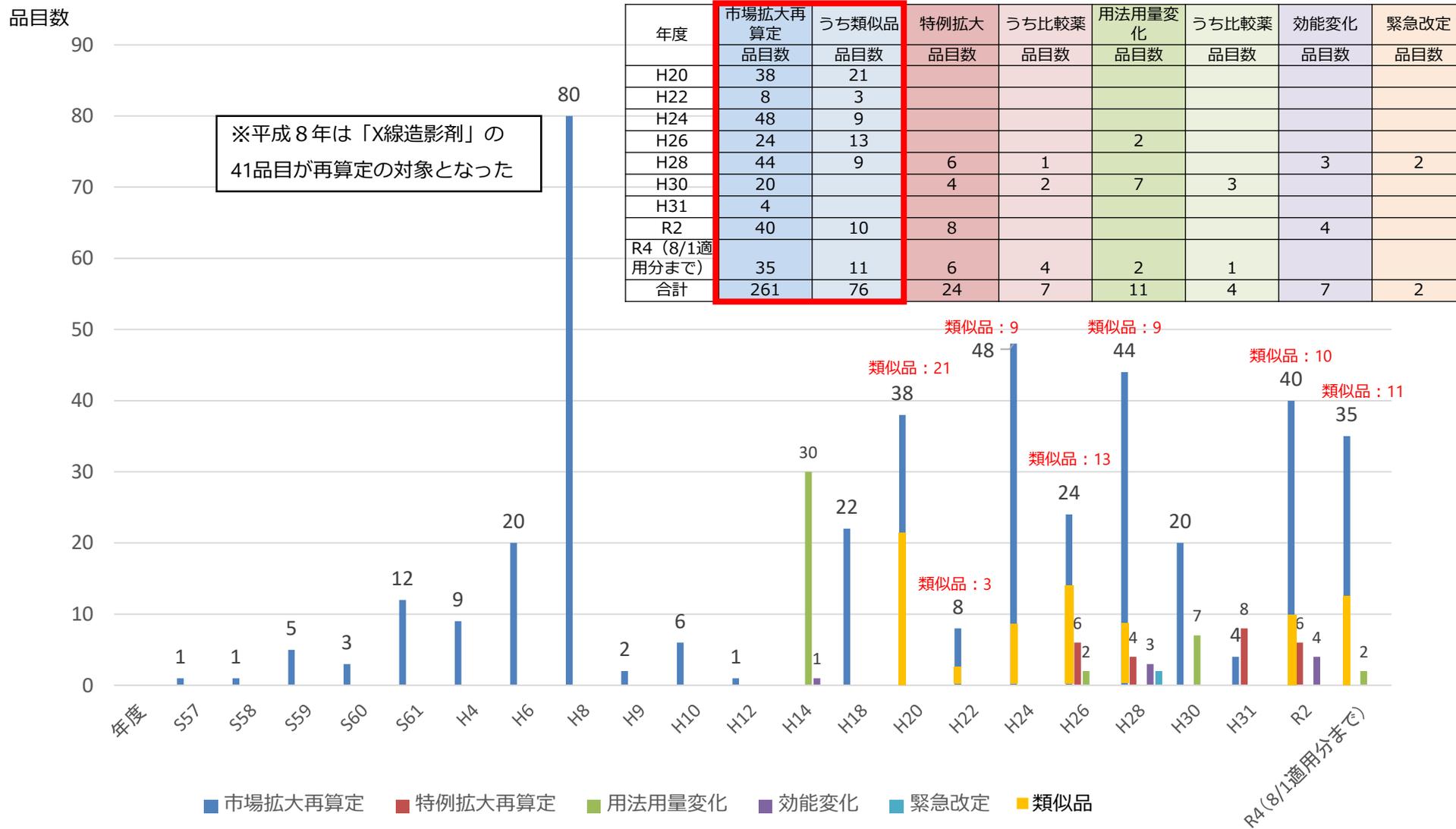
再算定の変遷



再算定の実施状況（昭和57年～令和4年8月まで）

現 状

平成20年度の薬価制度改革以降、76品目（再算定対象品：261品目）が、市場拡大再算定品目の類似品として、再算定を受けている。



再算定対象品の考え方の変遷

平成19年度までの制度

- 再算定は、「価格算定の前提条件である患者数等が大きく変化した場合」、「使用方法・適用患者の範囲等が変化し、対象薬とした医薬品との類似性が損なわれた場合」に行うこととされていた（前提条件が変わり、売上げが拡大した際に発動）。
- 当時は、1つの薬剤で1つの効能・効果を有している医薬品が多く、複数の効能・効果を有する医薬品は多くなかった。
- そのため、薬価算定の際の比較薬は、再算定対象品と類似性が高いため、市場で競合していると考えられていた。

平成20年度からの制度

- 市場で競合している医薬品について公平な薬価改定を行う観点から、「薬価収載の際の比較薬が市場拡大再算定の対象品である既収載品」だけでなく、「市場拡大再算定対象品の全ての薬理作用類似薬」について、市場拡大再算定類似品として扱い、再算定を行うこととされた。
- このため、効能・効果が重複し、薬理作用が類似する医薬品（薬理作用類似薬）については、市場で競合していると考えられ、再算定の対象とすることとされた。
- また、前提条件の変更がなくても、売上げが増加した医薬品については、保険財政への影響等の観点から、再算定を実施する規定が導入された。
- 平成20年度当時も、基本的には1製剤・1効能であり、薬理作用類似薬を対象としても、再算定対象品と効能・効果が重複していることから、市場で競合性があると判断された。

現在発生している課題

- 現在は、新薬の主流であるバイオ医薬品を中心に、特に抗がん剤や代謝性疾患分野において、1製剤で複数の効能・効果を有する製剤が多くなっている（バイオ医薬品は悪性腫瘍をターゲットとして開発されていることが多く、結果として複数の効能を取得することとなる傾向がある）。
- そのため、制度検討当時と比べ、効能・効果が多い製品が増えたことにより、薬理作用類似薬として再算定の対象となるリスクが増加し、企業が事前に想定していない再算定が行われるなど、予見可能性の低さが問題として顕在化してきた。効能・効果を追加することで新たな治療の選択肢を提供しようと努力している企業にとって、投資コスト回収の見込みが立たないリスクにつながり、日本への上市を見送る一因となっている懸念がある。
- また、アジア諸国での薬価算定において、再算定後の薬価を参照されるリスクがあり、日本への上市順位を低下させる懸念に繋がっている。

(参考) アジア圏諸外国における価格参照対象国と方式 (概要)

例えば、中国、韓国、台湾では、それぞれの薬価収載時点で海外の薬価を参照している。

日本の薬価を参照する国(アジア)	参照ルール	参照タイミング	参照される薬価	他の参照対象国
中国	最低価格	NRDL償還決定時、その後2年ごと	消費税を除いた公的価格	オーストラリア、カナダ、フランス、ドイツ、香港、イタリア、韓国、トルコ、台湾、イギリス、アメリカ
韓国	承認申請の方法により異なるルールが適用	通常償還決定時	消費税を除いた公的価格	フランス、ドイツ、イタリア、スイス、イギリス、アメリカ
台湾	最低価格	償還決定時、その後毎年	消費税を除いた公的価格	オーストラリア、ベルギー、カナダ、フランス、ドイツ、スウェーデン、スイス、イギリス、アメリカ

(出典: EFPIA会員企業グローバル本社による調査)

再算定に係る論点

- 企業における予見可能性向上のためには、現在の新薬の開発動向を踏まえ、再算定が行われる際の、市場で競合している品目の再算定の在り方について見直す必要があるのではないか。

2. 革新的医薬品の迅速な導入に向けた さらなるインセンティブ等の在り方について

各項目における課題①（再掲）

1. 薬価制度改革の経緯

- 企業経営に影響を与えるような大きな制度変更が頻回に行われると、当初計画していた投資コスト回収が困難となるリスクが生じる。その結果、日本市場はリスクが高いとして開発を先送りにされる、あるいは他国での開発が優先されるおそれがある。
- また、仮に投資コスト回収期間が延長した場合、企業は投資コスト回収のため、後発品が上市された後も特許満了後の新薬の販売を継続することが必要となり、結果として長期収載品の収益への依存を誘導する一因となることが懸念される。

2. 新規収載品の薬価算定

【補正加算】

- 加算適用の可否については、薬事承認で用いた臨床試験成績（具体的には承認審査における審査報告書で評価された試験成績）における評価により判断されるが、当該報告書は品質・有効性・安全性を確認・評価し、薬事承認の可否を判断するものであるため、「品質・有効性・安全性を判断するために必要ではないことから必ずしも審査報告書に記載されないデータ」、「審査報告書に記載があっても、主要評価項目以外のデータ等であって有用性評価の根拠とされていないデータ」などについては、結果的に補正加算の判断に使用されない傾向がある。
- また、補正加算の適用にあたっては、既存治療（医薬品以外も含む）がある場合、それと比べて客観的に優れていることをデータで示す必要があるが、例えば、希少疾患を対象とした医薬品や小児を対象とした医薬品においては、患者数が少ないため他治療群を比較対象とした臨床試験を実施することが困難な場合が多く、既存治療と直接比較して優れていることをデータで示せないことがある。そのため、収益性が悪いことなどから、特に開発・上市が望まれる希少疾病用薬等については、画期性・有用性加算を取りにくい傾向がある。

【外国平均価格調整】

- 外国平均価格調整により引き上げを行うルールがあるのは新規収載時のみであるため、外国価格が日本の薬価と比較して高く算定される傾向のある医薬品分野や、新規性・革新性が高く原価計算方式により算定された医薬品においては、海外複数国で上市した後に日本で薬価収載する方が、外国価格引上調整により高い薬価を算定される可能性が高い。そのため、世界に先駆けて開発された革新的新薬であっても、日本より海外で先に上市することを助長する懸念がある。

各項目における課題②（再掲）

3. 特許期間中の薬価の在り方

【新薬創出等加算】

- 現在の企業要件制度は、多くの新薬創出等加算対象品目の薬価を下げる仕組みとして働き、日本市場の魅力低下に繋がっているとの指摘がある。
- また、多数品目を取り扱う大企業に有利な制度であり、現在の開発主体となりつつあるベンチャー企業等の少数品目を扱う企業にとっては、区分Ⅰを取りにくい制度となっている。そのため、ベンチャー企業が開発の中心となった場合、現行制度の考え方は実態と合わなくなる。

【市場拡大再算定】

- 現在は、新薬の主流であるバイオ医薬品を中心に、特に抗がん剤や代謝性疾患分野において、1製剤で複数の効能・効果を有する製剤が多くなっている（バイオ医薬品は悪性腫瘍をターゲットとして開発されていることが多く、結果として複数の効能を取得することとなる傾向がある）。
- そのため、制度検討当時と比べ、効能・効果が多い製品が増えたことにより、薬理作用類似薬として再算定の対象となるリスクが増加し、企業が事前に想定していない再算定が行われるなど、予見可能性の低さが問題として顕在化してきた。効能・効果を追加することで新たな治療の選択肢を提供しようと努力している企業にとって、投資コスト回収の見込みが立たないリスクにつながり、日本への上市を見送る一因となっている懸念がある。
- また、アジア諸国での薬価算定において、再算定後の薬価を参照されるリスクがあり、日本への上市順位を低下させる懸念に繋がっている。

業界団体等からの具体的な提案①（薬価制度）

革新的新薬について、イノベーションについて適切な評価を行うべきという点について、各団体等の意見は概ね共通している。

	新規収載時の薬価	特許期間中の薬価の維持	
		新薬創出等加算	市場拡大再算定
日本製薬工業協会 （製薬協）	<ul style="list-style-type: none"> 有効性・安全性以外に、医薬品の多様な価値（QOL、社会的価値等）を評価する仕組みを導入（第3者機関が評価） 臨床的位置付け等の医療実態も含め、柔軟に類似薬を選定 	<ul style="list-style-type: none"> 特許期間中の革新的新薬を市場実勢価格による改定の対象から除外 上市後に得られたエビデンスやガイドラインにおける位置づけの変化等に基づき価値を再評価し、薬価を見直す 	<ul style="list-style-type: none"> 新規性の高い品目、極めて医療ニーズが高い品目は市場拡大再算定の免除 <p>※効能変化再算定、用法用量変化再算定は従前どおり実施</p>
再生医療イノベーション フォーラム（FIRM）	<ul style="list-style-type: none"> 再生医療等製品の価値や特徴、多様なイノベーションを評価できるよう新薬算定方式を導入すべき 		
薬価流通政策研究会 （くすり未来塾）	<ul style="list-style-type: none"> 一定期間メーカー届出価格で保険償還を認め、一定期間経過後は中医協で算定しなおすこととし、患者アクセスと開発インセンティブとの両立を図る 価格について企業の裁量と説明責任を求める観点から、販売時のみならず、発売後も届出に基づく価格引下げも可能にする 	<ul style="list-style-type: none"> 価格維持のための制度は、業界の財政中立提案により創設されたものだが、見直し時の業界との合意形成は不十分。十分な再協議が必要 新創加算の対象となるため企業要件が導入されたが、事実上スタートアップ企業を排除しているとの指摘 	<ul style="list-style-type: none"> 売上げ拡大時の薬価再算定に関しては、予見可能性が損なわれている部分の見直しが必要
新時代戦略研究所（INES）	<ul style="list-style-type: none"> 原価計算方式に代わる薬価算定方式を新たに導入 製薬企業が新薬の価値を最も適切に反映できる方法で薬価を算定 製薬企業が薬剤価値を立証するデータを当局に提出 	<ul style="list-style-type: none"> 新薬創出等加算品目は価格調整の対象から除外する（企業要件も廃止） 	<ul style="list-style-type: none"> 売上げ規模のみに基づく再算定は適用しない（特定製品を対象とした市場拡大再算定ではなくマクロ的アプローチを通じて薬剤費を調整） <p>※効能変化再算定、用法用量変化再算定は従前どおり実施</p>
デロイト・トーマツ	<ul style="list-style-type: none"> イノベーションによる価値（有効性・安全性以外）を評価（加算項目の新設） 第三者機関による医薬品の価値に関する科学的妥当性の評価の実施 収載後に収集したエビデンスを元にした薬価の再評価の実施及びエビデンス構築前の事前審査の実施 	<ul style="list-style-type: none"> 新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度の加算要件および薬価維持期間の変更（3番手ルールの撤廃） 	<ul style="list-style-type: none"> 市場拡大再算定における類似品引き下げルールの廃止 <p>※効能変化再算定、用法用量変化再算定は従前どおり実施</p>

業界団体からの具体的な提案②（薬事）

提案内容

欧州製薬団体連合会
(EFPIA)

- 「先駆的医薬品指定制度」は、米国のBreakthrough制度、欧州のPRIME制度と比較して指定数が大幅に少ない。
- 指定要件の厳しさやプロセスの観点から躊躇するケースも多く、結果として薬価のインセンティブも十分では無く、企業から見て積極的に活用したいと思われる制度となっていない。

（参考）先駆的医薬品指定制度の概要

「日本再興戦略」改訂2014（平成26年6月24日）に基づき、世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、**世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、医薬品では通常の半分の6ヶ月間で承認）**を目指す**「先駆け審査指定制度」**を平成27年4月1日より試行的に開始（通知）。令和元年の薬機法改正で**「先駆的医薬品等」の指定制度**として法制化（令和2年より施行）。

指定基準

※医薬品の場合

1. **治療薬の画期性**：原則として、以下のいずれかに該当するものであること
 - 既承認薬と異なる新作用機序であること
 - 既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること
 - 革新的な薬物送達システムを用いていること
2. **対象疾患の重篤性**：生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患
3. **対象疾患に係る極めて高い有効性**：既承認薬が存在しない、又は既承認薬・治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、若しくは著しい安全性の向上が見込まれること
4. **世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制**（同時申請も含む。）

(参考) 日米欧の制度 (先駆的医薬品制度等)

※2022年9月22日 有識者検討会 欧州製薬団体連合会 (EFPIA) 作成資料を引用

<3極の各制度に指定された品目のうち承認を取得した新有効成分の数>

	先駆的医薬品*	Breakthrough	PRIME
2018	2	15	2
2019	1	15	1
2020	3	21	8
2021	2	19	5

<日本における先駆的医薬品*の指定品目数>

年	指定品目数
2018	6
2019	3
2020	2
2021	1

	先駆的医薬品制度 (日本)	Breakthrough (米国)	PRIME (欧州)
導入	2020年8月	2012年7月	2016年3月
指定要件	4つの要件をすべて満たす (①治療薬の画期性②対象疾患の重篤性③対象疾患に係る極めて高い有効性④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思)	FastTrack より更に本質的革新をもたらすような画期的新薬の可能性のあるものを指定する	①既存治療より有用性が大きく上回る又は治療選択肢のない患者への効果 ②早期臨床でUnmet Medical Needsを有する患者に利益をもたらすpotentialを示す
審査側のプロジェクトマネジメント担当	専任コンシェルジュの任命	シニアマネージャー 分野横断型プロジェクトリード	専用窓口担当者 ラポーターの選任
規制当局との相談	優先対面助言	効率的な医薬品開発のための集中的ガイダンスの提供	全体的な開発計画と薬事戦略に関するキックオフミーティング 主要な開発マイルストーンにおける科学的アドバイス
逐次審査	対象 (先駆け総合評価相談)	対象	-
優先審査	6ヶ月以内の審査 (通常の優先審査の9ヶ月より短い)	別途Priority Review 指定が必要だが、通常は優先審査対象	対象(Accelerated Assessment)
その他	薬価における加算		

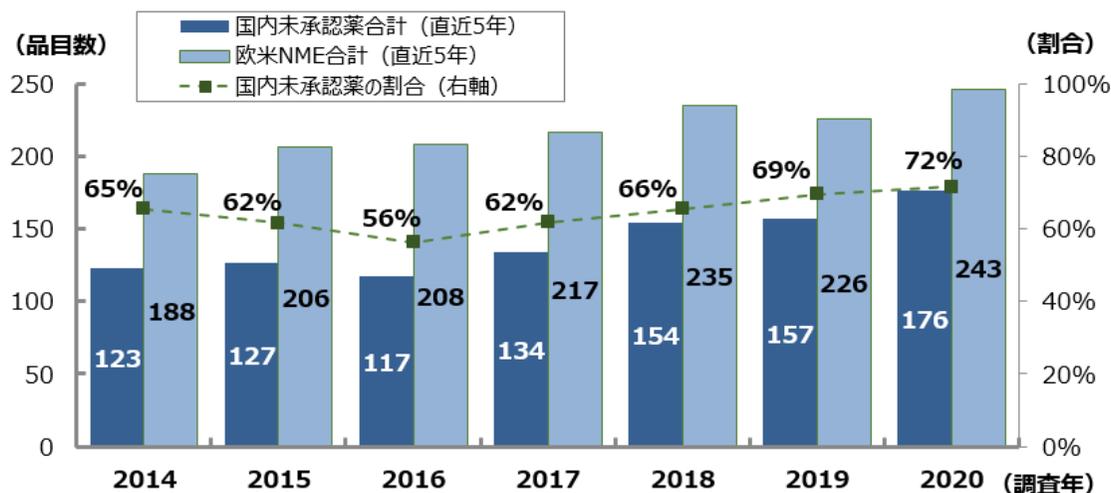
国内未承認薬の状況について

現 状

- 業界団体より、ドラッグラグ再燃の懸念が指摘されている。

2022年9月21日 有識者検討会での製薬協資料

増加する国内未承認薬



	2016年	2020年
国内未承認薬合計	117品目	176品目
国内未承認薬の割合	56%	72%

注1：各年の品目数は調査時点における直近5年の国内未承認薬数
 注2：国内未承認薬の割合 = 国内未承認薬合計（直近5年）／欧米NME合計（直近5年）
 出所：PMDA, FDA, EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 出典：医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：国内未承認薬の状況と特徴」政策研ニュース No.63（2021年07月）

ドラッグラグの再燃が懸念される

国内未承認薬の状況について

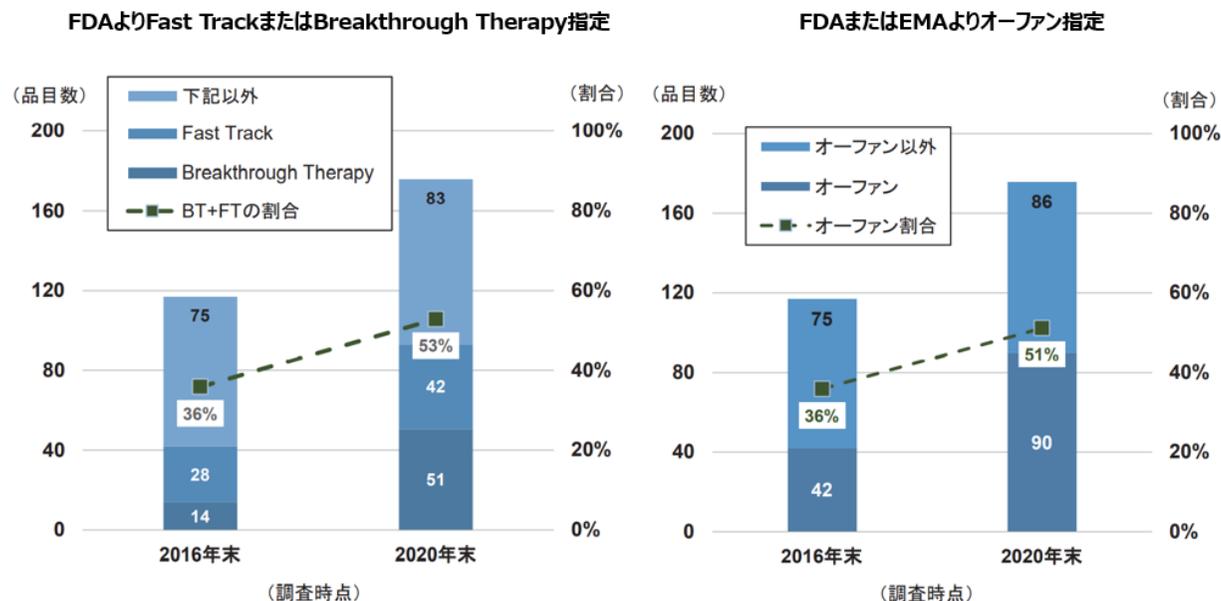
現 状

- FDAよりFast Track（迅速審査）またはBreakthrough Therapy（画期的治療法）と認定されたものが、国内未承認薬の半数を占めている。
- オーフアン指定（希少疾病用医薬品指定）も同様の傾向を示しており、医療上特に必要と考えられる医薬品の患者アクセスに影響を与えている懸念がある。

国内未承認薬の臨床的重要度



国内未承認薬の海外薬事上の特別措置指定数とその割合



注1: FDAよりFast Track(FT)とBreakthrough Therapy(BT)の両方の指定を受けた品目は、BT品として集計

注2: オーファンは、FDAとEMAの少なくともどちらか一方からオーファン指定を受けているNMEを集計

出所: PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

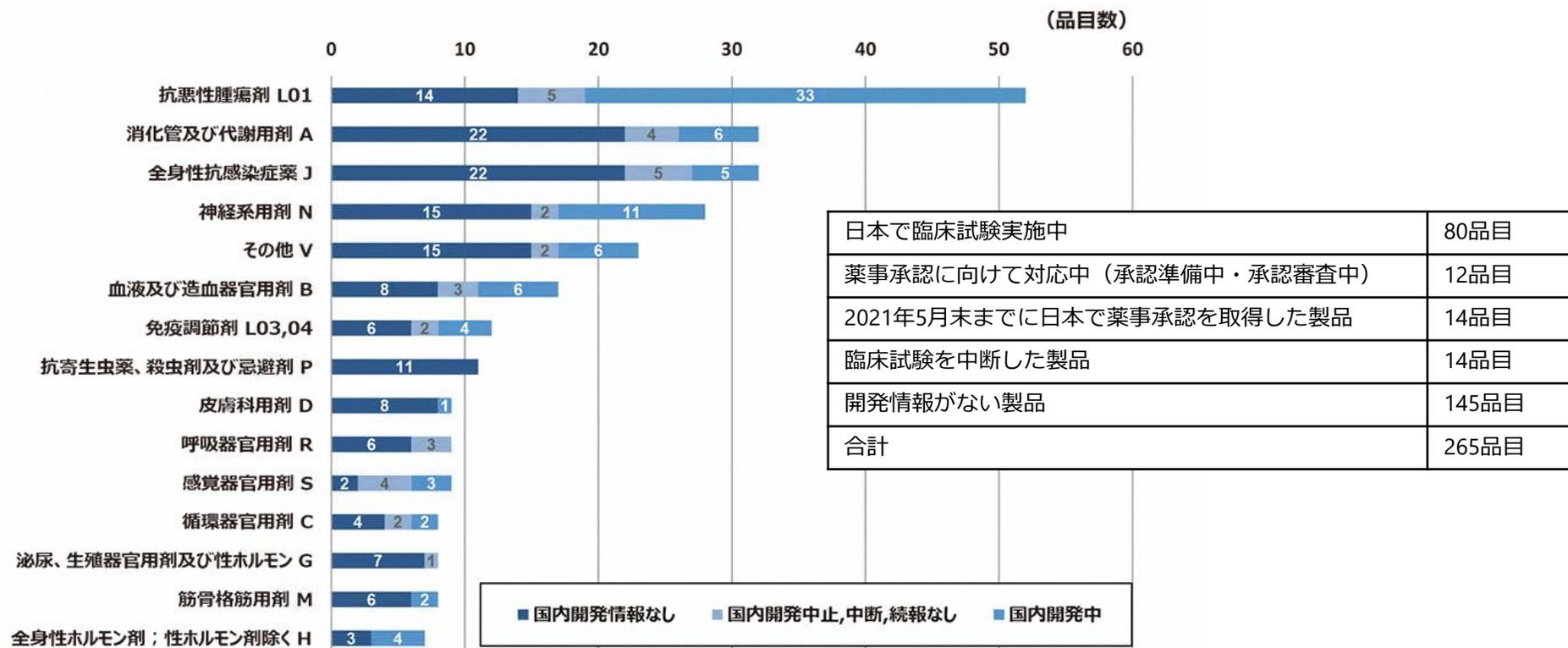
出典: 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ:未承認薬は日本のアンメット・メディカル・ニーズに答えうるか?」政策研ニュース No. 66 (2022年7月)

国内未承認薬の分類について

2020年末時点における国内未承認薬（海外で承認されているが日本で未承認の医薬品）265品目のうち、最も多い疾患領域は抗悪性腫瘍剤分野であった。

265品目のうち、日本国内で臨床試験を実施中の製品は80品目、薬事承認に向けて対応中（承認準備中・承認審査中）の製品は12品目、2021年までに日本で薬事承認を取得した製品は14品目、臨床試験を中断した製品は14品目、開発情報がない製品は145品目であった。

また、265品目のうち、米欧でオーファン指定されている製品は114品目であった。



注：開発状況については「明日の新薬」の記載に準じる。開発ステージ情報を得てから3年程度経過したものに対して、開発継続に関する情報が確認できなかった品目に関しては「続報なし」としている。

出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、WHO ATC index、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成（一部改変）

抗悪性腫瘍剤・神経系用剤分野における主な国内未承認薬について

2020年末時点で、日本国内において開発情報がない国内未承認薬（145品目）のうち、特に多い疾患領域である「抗悪性腫瘍剤」及び「神経系用剤分野」の主な製品は以下のとおり。

希少疾病用薬（Orphan（OR））や革新性・有用性が高いため優先審査（Breakthrough（BT）、Fast Track（FT））に指定されている治療薬も含まれている。

抗悪性腫瘍剤

2021年末時点

FDA承認年	薬剤名	米国申請企業名*	適応する疾患（米国）、薬剤の特性、国内患者数など	FDA指定		
				OR	BT	FT
2020	AYVAKIT	Blueprint Medicines	PDGFRAエキソン18変異を有するGIST（消化管間質腫瘍）に対して世界で 唯一奏功する治療薬。国内におけるGIST患者数は約1,000人。	○	○	○
2020	QINLOCK	Deciphera Pharmaceuticals	GISTに対する4次治療以降の 新たな選択肢。	○	○	○
2020	DANYELZA	Y-mAbs Therapeutics	特に乳児期~5歳未満で発症が多い 小児がん である、神経芽細胞腫に対する治療薬。 国内推定患者数100人以下。	○	○	—
2020	MARGENZA	MacroGenics	転移性HER2陽性乳がんの3次治療薬。 国内推定患者数約600名。	—	—	○
2015	ODOMZO	SUN PHARMA	国内における治療薬が無い 、基底細胞癌に対する治療薬。 国内推定患者数（再発）400人以下 （詳細不明）	—	—	—
2014	BELEODAQ	ACROTECH	難治性又は再発性末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する、初の作用機序を有する薬剤。 国内推定患者数3,000-5,000人	○	—	○

神経系用剤

2021年末時点

FDA承認年	薬剤名	米国申請企業名*	適応する疾患（米国）、薬剤の特性、国内患者数など	FDA指定		
				OR	BT	FT
2016	NUPLAZID	ACACIA PHARMS INC	パーキンソン病の 幻覚と妄想に対する初の治療薬	—	○	—
2019	ZULRESSO	SAGE THERAP	出産女性の約10~15%が罹患する、産後うつ の治療薬	—	○	—
2014	HETLIOZ	VANDA PHARMS INC	非24時間睡眠覚醒症候群	○	—	—

*いずれも新興バイオベンチャー

注：開発状況については「明日の新薬」の記載に準じる 出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、WHO ATC Index、明日の新薬をもとに、製薬協にて作成

革新的医薬品の迅速な導入に向けたさらなるインセンティブ等の在り方に係る論点

- 企業の予見性を高め、革新的新薬の日本への上市を進める観点から、現行制度において、p 39、40で記載したような課題を踏まえ、既存制度の見直しを検討していくことが必要ではないか。
- 一方で、希少疾病・小児・難病の治療薬など、医療上特に必要な革新的新薬が、欧米ではその革新性や有用性が高いとして既に承認されているにもかかわらず、日本においては未承認となっている実態を踏まえれば、このような医薬品の迅速な日本への上市を進めるためには、更に一步踏み込んだ以下のようなインセンティブの検討が必要ではないか。

※特に、今後、**希少疾病・小児・難病等への治療薬**として開発の主流となる医薬品（**バイオ医薬品、再生医療等製品等**）やそれらを開発する企業（**ベンチャー企業が主流**）に対して、適正な評価を行える仕組みとなっているか。

【インセンティブ及び課題】

- 薬価算定においては、希少疾病・小児・難病の治療薬といった革新性・有用性の高い医薬品についても、その医療上の必要性や新規モダリティ等のイノベーションを適切に評価し薬価に反映できるような、新たな薬価算定方式について検討してはどうか。
- 希少疾病・小児・難病の治療薬などの革新的新薬については、特許期間中においては、市場拡大再算定の対象としないことも含め、薬価を維持する仕組みを検討してはどうか（効能追加等を行い市場規模が拡大した場合は除く）。
- 上記に加え、上市後において、臨床現場での評価を医薬品の価値として薬価に反映させるために、一定期間後に再評価を行い、その結果を薬価に反映する仕組みを検討してはどうか。
- 薬価算定において医薬品の多様な価値を評価する場合、薬価収載までの期間を遅延させないことを前提に、評価方法等の検討や、評価機関の体制強化が必要であるがどう考えるか。
- 財源確保をどのように行うか（次回以降の有識者検討会で議論予定）。
- 薬価の加算にも繋がる先駆的医薬品指定制度について、革新的新薬の迅速な上市を図るため、より円滑に活用される方策を検討してはどうか。

（※臨床試験等の環境要因に関する課題については、次回以降の検討会で議論予定）