

(参考資料)

- 現行制度
- 関係団体等からの提案

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

- ・医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。
- ・現在は、随時募集で要望を募集している。

○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されている医薬品。

○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されている医薬品。

○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれの国でも未承認であるが、一定の要件を満たしている医薬品。

医療上の必要性の評価基準

次の（１）及び（２）の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

- （１）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合
- ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
 - イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
 - ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

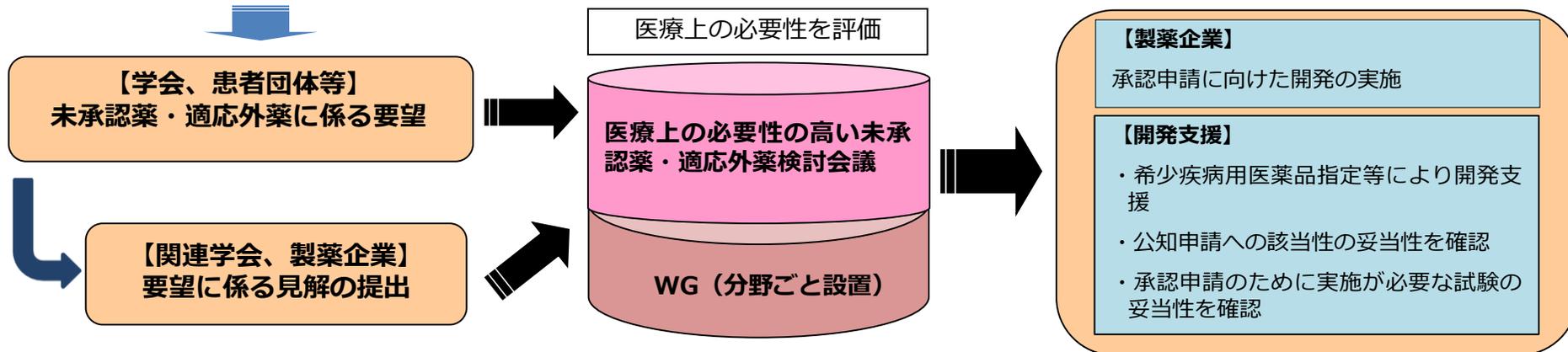
（２）医療上の有用性が次のいずれかの場合

<未承認薬、適応外薬>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

<未承認薬迅速実用化スキーム対象品目>

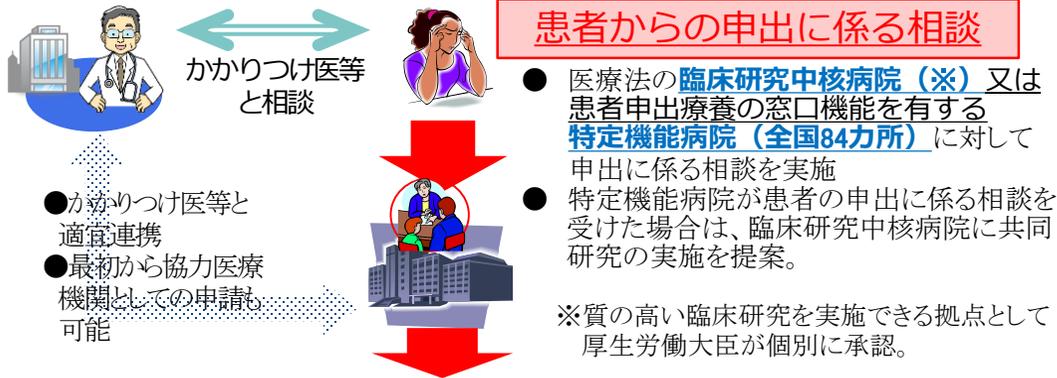
- ア 既存の療法が国内にない
- イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている



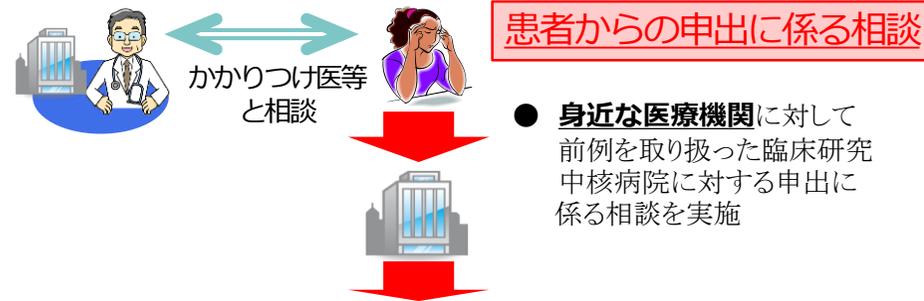
患者申出療養

- 国内未承認の医薬品等を迅速に保険外併用療養として使用したいという患者の思いに応えるため、患者からの申出を起点とする新たな保険外併用療養の仕組みとして、患者申出療養を創設

〈患者申出療養としては初めての医療を実施する場合〉



〈既に患者申出療養として前例がある医療を他の医療機関が実施する場合（共同研究の申請）〉



原則6週間



患者から国に対して申出
(臨床研究中核病院が作成する書類を添えて行う)

- 臨床研究中核病院は、**特定機能病院**や**それ以外の身近な医療機関**を、**協力医療機関**として申請が可能

患者申出療養評価会議（仮称）による審議

- 安全性、有効性、実施計画の内容を審査
- 医学的判断が分かれるなど、6週間で判断できない場合は全体会議を開催して審議

患者申出療養の実施

原則2週間

患者から臨床研究中核病院に対して申出

前例を取り扱った臨床研究中核病院

- 臨床研究中核病院は国が示した考え方を参考に、患者に身近な医療機関の実施体制を個別に審査
- 臨床研究中核病院の判断後、速やかに地方厚生局に届出

身近な医療機関で患者申出療養の実施

既に実施している医療機関



※ 6週間は国が各種書類を受理してから患者申出療養の実施までの期間

新薬創出・適応外薬解消等促進加算

「適応外薬の問題等の解消」と「革新的新薬の創出」を目的に、2010年度に試行的に導入。

本制度により、後発品が上市されていない新薬（薬価収載後15年まで）については薬価の維持が可能であったが、革新性の低い品目も加算対象となっている等の課題が指摘されてきたことを踏まえ、平成30年度の薬価改定により、品目要件及び企業要件が追加され、薬価の維持が可能な対象製品が限定された。

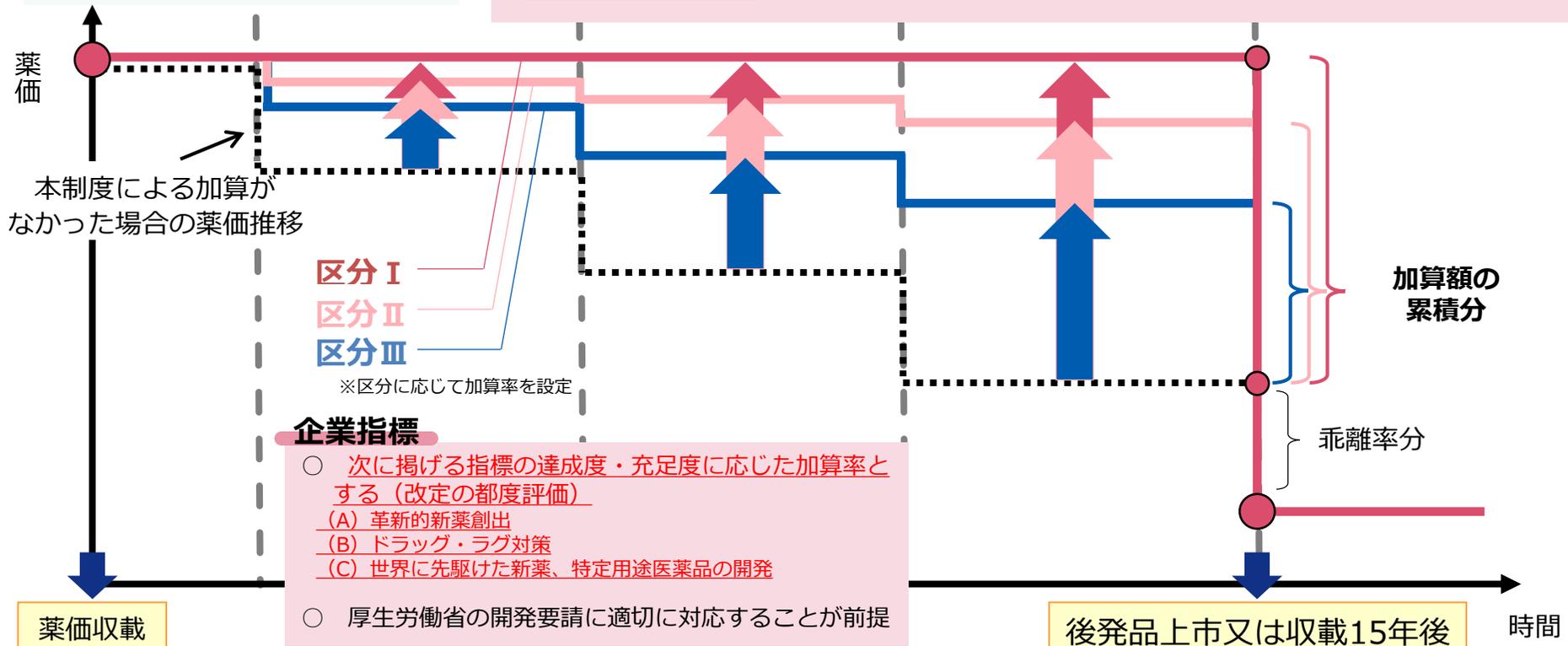
制度の位置づけ

革新的新薬の創出を効率的・効果的に促進するため、後発品の無い新薬の市場実勢価格に基づく薬価の引下げを猶予

品目要件

医薬品そのものの革新性・有用性に着目して判断

- 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



企業指標

- 次に掲げる指標の達成度・充足度に応じた加算率とする（改定の都度評価）
 - (A) 革新的新薬創出
 - (B) ドラッグ・ラグ対策
 - (C) 世界に先駆けた新薬、特定用途医薬品の開発
- 厚生労働省の開発要請に適切に対応することが前提

※ なお、加算額について、乖離率に応じた上限を設定

新規作用機序医薬品の革新性・有用性の基準

以下の基準のいずれかに該当する**新規作用機序医薬品**（薬価収載時に薬理作用類似薬がなしとされた医薬品）又は**新規作用機序医薬品に相当すると認められる効能・効果が追加されたもの**（既存の効能と類似性が高いと認められる効能追加等の場合を除く）は、新薬創出等加算の対象となる。

<p><u>新規作用機序により既存治療で効果不十分な疾患に有効性を示したものであること</u></p>	<p>当該疾患に対する標準療法で効果不十分又は不耐容の患者を含む臨床試験（当初の承認を目的として実施されたもので、効果不十分又は不耐容の患者の目標症例数が事前に設定された企業治験に限る。）において有効性が示されることなどにより、添付文書の効能・効果、使用上の注意、臨床試験成績の項において、これらの患者に対して投与可能であることが明示的になっているものであること。</p>
<p><u>新規作用機序により既存治療に対して比較試験により優越性を示したものであること</u></p>	<p>対象疾患に対する既存治療（本邦における治療方法として妥当性があるものに限る。）を対照群（プラセボ除く）に設定した臨床試験（当初の承認を目的として実施されたもので、優越性を検証することを目的とした仮説に基づき実施された企業治験に限る。）を実施し、主要評価項目において既存治療に対する本剤の優越性が示されていること。</p> <p>また、製造販売後において、当初の承認時の疾患を対象とした製造販売後臨床試験も同様に取り扱うものとする。</p>
<p><u>新規作用機序により認められた効能を有する他の医薬品が存在しないこと</u></p>	<p>薬事承認時点において、本剤と効能・効果が一致するものがなく、対象疾患に対して初めての治療選択肢を提供するもの、又は類似の効能・効果を有する既存薬と比べて、治療対象となる患者の範囲が拡大することが明らかであるもの。</p>

新薬創出等加算の状況（令和4年度薬価制度改正）

Ⅶ 新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）

1. 加算（対象品目及び企業リスト：別添6、7）

注：複数区分に該当する場合は、上の区分に分類（この他の要件に、⑥先駆的医薬品、⑦特定用途医薬品及び⑧薬剤耐性菌の治療薬があるが、⑦に該当するものはなし）

要件	成分数	品目数
①希少疾病用医薬品	187成分	277品目
②開発公募品	13成分	23品目
③加算適用品	86成分	162品目
④新規作用機序医薬品のうち基準該当品	42成分	69品目
⑤新規作用機序医薬品から3年以内かつ3番手以内のうち1番手が加算適用品又は基準該当品	20成分	40品目
合計	348成分	571品目

○ 企業区分ごとの企業数（括弧内は各区分の企業数の割合）

	区分Ⅰ	区分Ⅱ	区分Ⅲ	合計
企業数	22社（24%）	47社（52%）	21社（23%）	90社（100%）

○ 新薬創出等加算の加算額：約520億円

2. これまで受けた新薬創出等加算の累積額の控除（対象品目リスト：別添8）

○ 控除対象

成分数：65成分

品目数：145品目

○ 新薬創出等加算の控除額：約860億円

新薬創出等加算の加算額及び控除額

中医協 薬-1-1

3.10.20

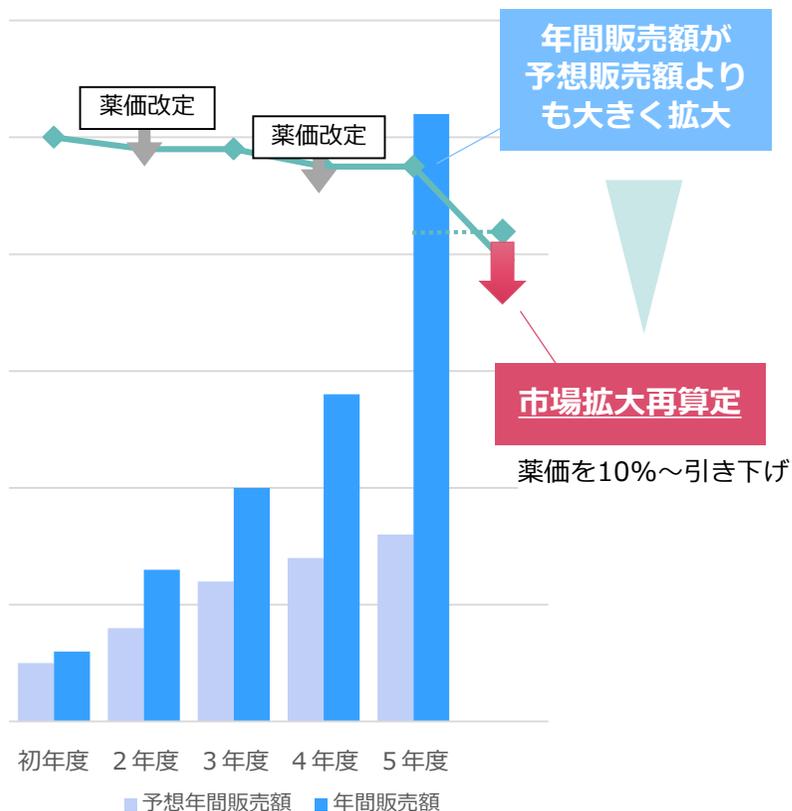
改定年度	適用期間	加算額	控除額
平成22年度	H22.4~H23.3 (2年間)	700億円	-
平成24年度	H24.4~H25.3 (2年間)	690億円	▲130億円
平成26年度	H26.4~H27.3 (2年間)	790億円	▲220億円
平成28年度	H28.4~H29.3 (2年間)	1,060億円	▲360億円
平成30年度	H30.4~R1.9 (1年6か月)	810億円	▲650億円
令和元年度	R1.10~R2.3 (6か月)	700億円	-
令和2年度	R2.4~R3.3 (1年間)	770億円	▲750億円
令和3年度	R3.4~R4.3 (1年間)	470億円	-

再算定：市場拡大再算定

国民皆保険を維持する観点から、薬価改定の際、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は、拡大率に応じて薬価を引き下げる「市場拡大再算定」が実施されている。

平成20年度薬価制度改革において、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も対象に追加されたが、この仕組みについて、予見可能性の低い他社品目の市場拡大による薬価の引き下げ（いわゆる共連れ）が生じることとなり、企業の研究開発の投資を阻害しているとの指摘がある。

【市場拡大再算定のイメージ】：年間販売額が予想販売額の一定倍数を超えた場合等に、薬価を引下げ



市場拡大再算定		基準額	予想販売額比	薬価引下げ率	
				原価計算方式	類似薬効比較方式
薬価改定時の再算定	年間販売額が予想販売額の一定倍数を超えた場合等には、薬価改定時に価格を更に引き下げる	100億円超	10倍以上	10~25%	-
		150億円超	2倍以上	10~25%	10~15%
薬価改定時以外の再算定（四半期再算定）	効能追加等がなされた品目については、市場規模350億円超のものに限り、新薬収載の機会（年4回）を活用し、上記の算式に従い薬価改定を行う	350億円超	2倍以上	10~25%	10~15%
市場拡大再算定の特例（改定時・四半期）	年間販売額が極めて大きい品目の取扱いに係る特例	1000~1500億円	1.5倍以上	10~25%	
		1500億円超	1.3倍以上	10~50%	

※特例拡大再算定対象品又はその類似品として改定を受けた品目は、当該改定の適用日の翌日から起算して4年を経過する日までの間、一回に限り、他品目の市場拡大再算定類似品に該当した場合でも、市場拡大再算定類似品又は特例拡大再算定類似品として取り扱わない

再算定：効能変化再算定

算定ルール

①主たる効能・効果の変更がなされた医薬品であって、②変更後の主たる効能・効果に係る類似薬があるものについて、変更後の効能・効果の類似薬の価格に近づくよう、薬価を再算定を行う。

※新薬として薬価収載されたものに限る、当該既収載品と組成及び投与形態が同一のものを除く。

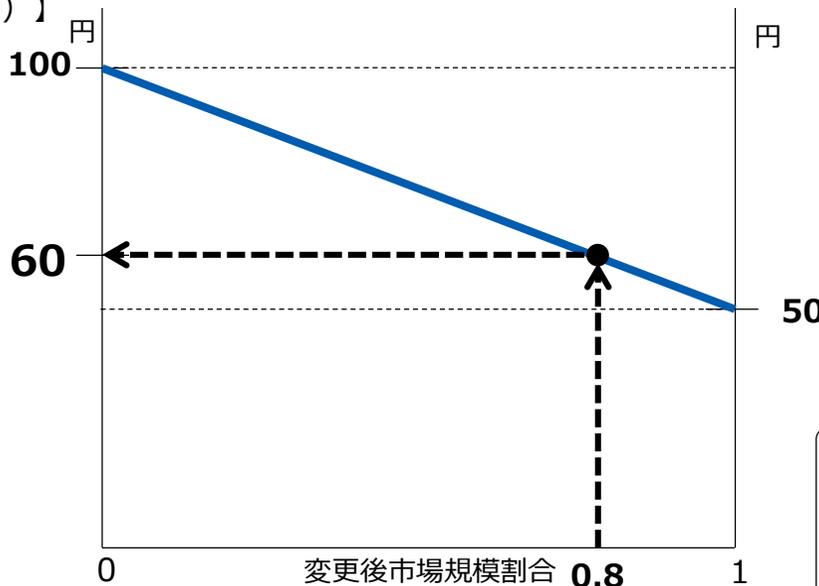
※変更後の効能・効果の市場規模が、変更前のものと比べて大きいほど、変化の程度が大きい（改定率の上限なし）。

【再算定イメージ（例）】

変更前の1日薬価

引下げ

再算定後の薬価



変更後の効能の
最類似薬の1日薬価

$$\text{変更後市場規模割合} = \frac{\text{変更後市場規模}}{\text{変更前市場規模} + \text{変更後市場規模}}$$

※市場規模は薬理作用類似薬の年間販売額の合計

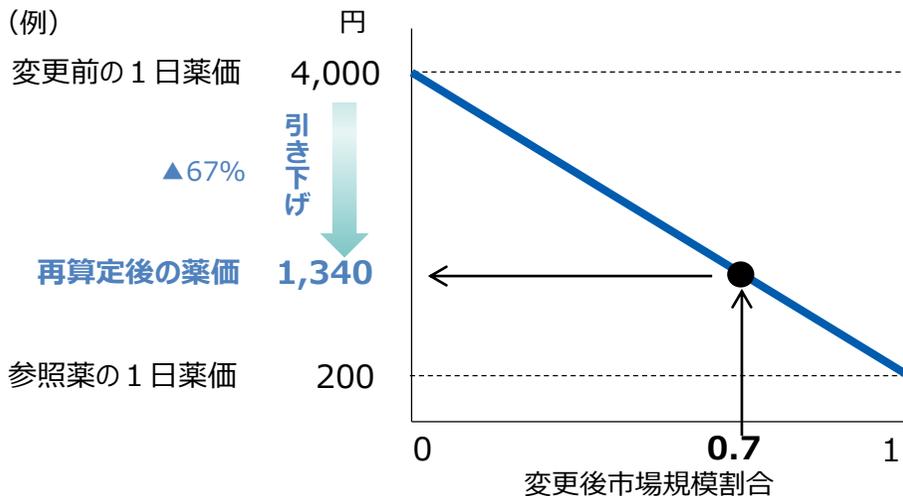
効能変化再算定の特例

主たる効能・効果の変更があった医薬品について、変更後の主たる効能・効果に係る薬理作用類似薬がない場合であっても、変更後の主たる効能・効果に係る参照薬（※）と比較して著しく1日薬価が高く、市場規模が著しく大きくなると考えられる場合は、当該参照薬の1日薬価を参照して再算定を行う。

※変更後の主たる効能・効果と同一又は類似する効能・効果を有する既存薬のうち、治療上の位置づけ等が類似するもの

<再算定の方法>

- 参照薬の1日薬価に近づくよう薬価を再算定
- 変更後の効能効果の市場規模が変更前と比べて大きいほど、変化の程度を増加させる



$$\text{変更後市場規模割合} = \frac{\text{変更後市場規模}}{\text{変更前市場規模} + \text{変更後市場規模}}$$

※ 市場規模は、主たる効能効果が同一又は類似し、かつ治療上の位置づけ等が類似すると認められる既存薬の年間販売額の合計

<対象範囲>

- 対象となる医薬品は以下の要件をいずれも満たすもの

- 1日薬価が参照薬の1日薬価の10倍以上
- 参照薬の年間販売額が150億円以上
- 主たる効能・効果の変更に伴い対象患者数が現に使用されている患者数から最大で10倍以上に拡大すると認められるものであって、対象患者が最大で5万人以上と認められるもの
- 変更後の主たる効能・効果が根治的治療法に該当するもの、生命に重大な影響のある重篤疾患、指定難病、血友病又は抗HIVの効能を追加するものは除く
 - ※ 参照薬が複数ある場合は1日薬価の加重平均値
 - ※ 参照薬が複数ある場合は合計の年間販売額

- 市場拡大再算定と同様に、年間販売額が350億円を超える場合は、新薬収載の機会（年4回）を活用して、効能変化再算定（本特例を含む）を行う

再算定：用法用量変化再算定

算定ルール

- ① **主たる効能・効果に係る用法・用量に変更があった品目**（効能変化再算定の対象品目、安全対策上の必要性により通常最大用量が減少したものを除く）については、以下の算式により改定する。
- ② **主たる効能・効果に係る効能変更等に伴い用法・用量に大幅な変更があった品目**については、**市場規模が100億円を超え、かつ、市場規模が効能変更等の承認を受けた日の直前の薬価改定（令和3年度薬価改定を除く）の時点における年間販売額から10倍以上となった場合に**、以下の算式により改定する。

※ これらの規定は、当該規定の対象となった医薬品（類似品を含む。）が薬価収載の際の比較薬である医薬品（用法及び用量の変更後に比較薬とした場合に限る。）についても、類似品として適用

【再算定のイメージ】

（算式）

$$\text{通常の薬価改定後の薬価} \times \frac{\text{従前の用量}^{\ast}}{\text{変更後の用量}^{\ast}}$$



（考え方）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）

※用量としては、主たる効能・効果に係る一日通常最大単位数量（用法及び用量に従い、通常最大用量を投与した場合における薬価算定単位あたりの一日平均の数量）を用いる。

（再算定の例）

薬 価 : 100円 → 96円（通常の薬価改定）
用法・用量 : 1日2錠 → 1日3錠 に変更

$$\text{再算定後の薬価} = 96 \times \frac{2}{3} = 64\text{円}$$

有用性系加算等の該当性の考え方

中医協 総-4
 参考人提出資料 (抜粋)
 26.4.23
 (一部改変)

イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること

① 臨床上有用な新規の作用機序 (該当する項目ポイントの合計により算出。a、bはいずれか1つ)		ポイント
a.	薬理作用発現のための薬剤の作用点 (部位) が既記載品目と大きく異なる	2p
b.	薬理作用発現のための薬剤の標的分子 (酵素、受容体など) が既記載品目と異なる	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1p
d.	a又はbを満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床上添に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1p

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

② 類似薬に比した高い有効性又は安全性 (②-1と②-2のポイントの積により算出)		
②-1 高い有効性又は安全性の内容 (該当する項目ポイントの合計)		
a.	臨床的重要な有効性指標において類似薬に比した高い有効性が示される	1p
b.	重篤な副作用の発現状況など、臨床的重要な安全性指標において類似薬に比した高い安全性が示される	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、高い有効性/安全性が臨床上添に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1p
②-2 高い有効性・安全性の示し方 (いずれか1つ)		
a.	ランダム化比較臨床試験による	2p
b.	その他、客観性及び信頼性が確保された方法による	1p

1 p = +5%として計算。
 5%~120%の範囲で有用性加算率を算出。

例えば、
 イ、ロの項目に該当する場合、
 有用性加算 I に該当 (イ、ロ、ハの要件のうち、2つに該当) するため、加算率は35%以上となる。

ハ 当該新規記載品により、当該新規記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

③ 対象疾病の治療方法の改善 (該当する項目ポイントの合計により算出)		
a.	既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる	1p
b.	対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる	1p
c.	既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い (製剤工夫によるものを除く)	1p
d.	既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される	1p
e.	上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める	1p
f.	a~eのいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1p

補正加算の多くは、既存治療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

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

④ 製剤工夫による高い医療上の有用性 (該当する項目ポイントの合計により算出)		
a.	投与時の侵襲性が著しく軽減される	1p
b.	投与の簡便性が著しく向上する	1p
c.	特に安定した血中薬物濃度が得られる	1p
d.	上記の他、特に高い医療上の有用性があると薬価算定組織が認める	1p

補正加算の要件の変遷①

	画期性加算	有用性加算	市場性加算	小児加算	先駆け審査指定制度加算
昭和57年答申	○先駆性加算(3%) 医療上の必要性が十分評価できる新医薬品であって、先駆性を有する新医薬品であって、研究開発費が相対的に大きく、その配慮が必要とされるもの。	○有用性加算(3%) 有効性または安全性について高い評価のできる新医薬品。	○市場性加算(3%) 医療上の必要性が十分評価できる新医薬品であって、市場規模の小さい薬効群に属する新医薬品であって、薬価の低いものまたは患者数が限られている難病疾患を主な対象として用いられる新医薬品。	—	—
平成3年建議	○画期性加算(20%) 以下に掲げる要件の全てを満たす新医薬品 ア 全く新しい着想によって研究・開発されたものであること。 イ 既存の医薬品に比して明らかに高い有効性又は安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。 ウ 対象疾患の医療体系に重大な影響を与えることが予想され、治療方法の改善・進歩への著しい貢献が期待されること。	○有用性加算(3%) 以下に掲げる要件のうち少なくとも一つを満たす新医薬品。 ア 既存の医薬品に比して明らかに高い有効性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。 イ 既存の医薬品に比して明らかに高い安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。 ウ 製剤学的な工夫により、既存の医薬品比して、明らかに高い医療上の有用性が期待されること。	○市場性加算(3%) 以下に掲げる要件のうち少なくとも一つを満たす新医薬品。 ア 患者数が極めて少ない疾患を適用として承認されたものであること。 イ 市場規模が小さい薬効群に属するものであること。	—	—
平成7年建議	○画期性加算(40%) 以下の要件をすべて満たすもの。 ア 全く新しい着想によって研究・開発されたものであること。 イ 既存の医薬品に比して明らかに高い有効性又は安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。 ウ 対象疾患の医療体系に重大な影響を与えることが予想され、治療方法の改善・進歩への著しい貢献が期待されること。	○有用性加算(Ⅰ)(10%) 画期性加算の3要件のうち2つを満たすもの。 ○有用性加算(Ⅱ)(3%) 以下の要件のいずれかを満たすもの。 ア 既存の医薬品に比して明らかに高い有効性又は安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。 イ 製剤学的な工夫等により、既存の医薬品比して、明らかに高い医療上の有用性が期待されること。	○市場性加算(Ⅰ)(10%) 患者数が極めて少ない疾患を適用として承認されたものであること(希少疾病用医薬品に準じた医薬品であること)。 ○市場性加算(Ⅱ)(3%) 市場規模が小さく新医薬品の開発が少ない薬効群に属するものであること。	—	—

補正加算の要件の変遷②

	画期性加算	有用性加算	市場性加算	小児加算	先駆け審査指定制度加算
平成12年 了解	<p>○画期性加算(40%) 次の要件を全て満たす新規 収載品</p> <p>イ 全く新しい着想によって研究・開発されたものであること。</p> <p>ロ 類似薬に比して、高い有用性又は安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。</p> <p>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医療体系に重大な影響を与えることが予想され、治療方法の改善・進歩への著しい貢献が期待されること。</p>	<p>○有用性加算(Ⅰ)(10%) 画期性加算の3要件のうち2つを満たす新規収載品</p> <p>○有用性加算(Ⅱ)(3%) 次の要件のいずれかを満たす新規収載品。</p> <p>イ 類似薬に比して高い有効性又は安全性を有することが、客観的かつ科学的に実証されていること。</p> <p>ロ 製剤における工夫により、類似薬に比して、高い医療上の有用性を有することが客観的かつ科学的に実証されていること。</p>	<p>○市場性加算(Ⅰ)(10%) 次の要件を全て満たす新規収載品</p> <p>イ 薬事法の規定に基づく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。</p> <p>ロ 新規収載品の主たる効能及び効果に係る薬理作用類似薬がないこと。</p> <p>○市場性加算(Ⅱ)(3%) 次の要件を全て満たす新規収載品</p> <p>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群に該当すること。</p> <p>ロ 新規収載品の主たる効能及び効果に係る薬理作用類似薬がないこと。</p>	—	—
平成14年 了解	<p>○画期性加算(40～100%) 次の要件を全て満たす新規 収載品</p> <p>イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること。</p> <p>ロ 類似薬に比して、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。</p> <p>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。</p>	<p>○有用性加算(Ⅰ)(15～30%) 画期性加算の3要件のうちイ又はハのいずれか及びロを満たす新規収載品</p> <p>○有用性加算(Ⅱ)(5～10%) 次の要件のいずれかを満たす新規収載品。</p> <p>イ 類似薬に比して、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。</p> <p>ロ 製剤における工夫により、類似薬に比して、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。</p> <p>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。</p>	<p>○市場性加算(Ⅰ)(10%) 次の要件を全て満たす新規収載品</p> <p>イ 薬事法の規定に基づく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。</p> <p>ロ 新規収載品の主たる効能及び効果に係る薬理作用類似薬がないこと。</p> <p>○市場性加算(Ⅱ)(3%) 次の要件を全て満たす新規収載品</p> <p>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群に該当すること。</p> <p>ロ 新規収載品の主たる効能及び効果に係る薬理作用類似薬がないこと。</p>	—	—

補正加算の要件の変遷③

	画期性加算	有用性加算	市場性加算	小児加算	先駆け審査指定制度加算
平成18年了解	○画期性加算(50～100%) (要件は平成14年と同じ)	○有用性加算(Ⅰ)(25～40%) 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)(5～20%) (要件は平成14年と同じ)	○市場性加算(Ⅰ)(10%) (要件は平成14年と同じ) ○市場性加算(Ⅱ)(3%) (要件は平成14年と同じ)	○小児加算(3～10%) 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 当該新規収載品の主たる効能及び効果に係る薬理作用類似薬(当該効能及び効果に係る用法及び用量に小児に係るものが明示的に含まれているものに限る。)がないこと。	—
平成20年了解	○画期性加算(70～120%) (要件は平成18年と同じ)	○有用性加算(Ⅰ)(35～60%) (要件は平成18年と同じ) ○有用性加算(Ⅱ)(5～30%) (要件は平成18年と同じ)	○市場性加算(Ⅰ)(10～20%) 次の要件を全て満たす新規収載品 イ 薬事法の規定に基づき、希少疾病用医薬品として指定された新規収載品であって、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、日本標準商品分類に定められている薬効分類のうち、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 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。以下同じ。)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	—

補正加算の要件の変遷④

	画期性加算	有用性加算	市場性加算	小児加算	先駆け審査指定制度加算
平成26年了解	○画期性加算(70～120%) (要件は平成20年と同じ)	○有用性加算(Ⅰ)(35～60%) (要件は平成20年と同じ) ○有用性加算(Ⅱ)(5～30%) (要件は平成20年と同じ)	○市場性加算(Ⅰ)(10～20%) (要件は平成20年と同じ) ○市場性加算(Ⅱ)(5%) (要件は平成20年と同じ)	○小児加算(5～20%) (要件は平成20年と同じ)	○先駆導入加算(10%) 次の要件を全て満たす新規収載品 イ 外国(アメリカ合衆国、連合王国、ドイツ及びフランスに限る。以下同じ。)及び我が国のいずれかの国において承認されている既存の薬剤とは異なる新規の作用機序を有すること ロ 外国に先駆けて我が国で、最初に薬事承認を取得したもの ハ 我が国だけで流通する見込みの医薬品でないことが外国での開発状況(開発計画を含む)や治験届等により確認されているもの ニ 画期性加算又は有用性加算(Ⅰ)の適用を受けるもの
平成28年了解	○画期性加算(70～120%) (要件は平成26年と同じ)	○有用性加算(Ⅰ)(35～60%) (要件は平成26年と同じ) ○有用性加算(Ⅱ)(5～30%) (要件は平成26年と同じ)	○市場性加算(Ⅰ)(10～20%) (要件は平成26年と同じ) ○市場性加算(Ⅱ)(5%) (要件は平成26年と同じ)	○小児加算(5～20%) (要件は平成26年と同じ)	○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新規収載品

- 関係団体等からの提案



提案① 新たな薬価維持制度

- 新薬創出等加算の導入から十数年経過し、後発品割合は高まり、新薬による収益から研究開発に再投資するサイクルは定着したことから、本制度は一定の役割を果たした
- 一方で、未承認薬が増加しており、国民に必要な医薬品が届いていない
- 市場実勢価改定方式の課題への対応とあわせて、市場の魅力度向上に資するわかりやすい薬価維持制度が求められる

「患者アクセス促進・薬価維持制度」

- 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しシンプルに薬価維持
- 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

提案② 革新的新薬の早期上市インセンティブ



ドラッグラグ緊急対応として、迅速に日本で開発される必要がある品目に対し、評価上のインセンティブをセットで付与する

対象品目

- 海外から遅れることなく収載される新規性の高い品目
- 海外収載から相当期間が経過したものを含む、極めて医療ニーズが高い品目
(例：治療法が確立していない難病・希少疾病等)

評価上のインセンティブ

新たな価値評価プロセス	<ul style="list-style-type: none">• 薬価算定前に、価値を幅広く客観的に評価するプロセスを設ける• 企業が主体的に医薬品の価値を説明し、その妥当性が公的に評価される• 「評価報告書」を公開することで、国民からの納得性・透明性を向上させる
医薬品の多様な価値の評価 柔軟な類似薬選定	<ul style="list-style-type: none">• 「評価報告書」において有効性・安全性に加え医薬品の多様な価値を評価する• 臨床的位置づけ等の医療実態も含め考慮し、柔軟に類似薬を選定する
市場拡大再算定の免除	<ul style="list-style-type: none">• 特例及び類似品としての適用を含め、市場拡大再算定を免除する ※効能変化再算定・用法用量変化再算定は従来通り適用する

再生医療等製品の算定方式の現状とあるべき姿

再生医療等製品の算定方式、価格の現状

- 医薬品、医療機器の例に分けられて算定されている
- 多様なコスト構造・価値を適切に評価できていない
- 欧米の価格と比較して日本の価格は低い

再生医療等製品の算定方式のあるべき姿

- 医療費や社会的価値に基づいた価格算定
- 既存治療に対する付加価値を上市後にも反映できる仕組み

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新算定方式を導入するべきである

※再生医療等製品の価格算定方式については、知見が蓄積した後、独自の体系を作るかを中医協で検討するとされている（2014.11.5 中医協総会 2-1）

提案 2 イノベーションの評価（1）

- 薬価算定方式において、イノベーションの評価というメッセージを世界に発信すべき。特に、新薬の発売時価格と特許期間中価格の扱いが焦点。
- 「特許期間中に薬価を維持する仕組み」については、特許切れ後に累積分を一括引下げする、財政中立を目指した制度として発足したものの。近年、これを大幅縮小したため、財政中立が崩れた負のメッセージになった。
 - （見直し案）当初の財政中立の考え方を活かし、累積分の一括引下げが本格化した今年度の引下げ規模（約850億円）と同額程度の規模を薬価維持に当てるなど、明快で分かりやすい方針を打ち出すべき。

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。また、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。

提言：特許期間中の薬価特例の制度、再算定の制度を再見直し

提案 2 イノベーションの評価（2）

- 日本市場は、承認後の保険収載は世界でも最速。しかし、新薬の薬価は海外価格に影響する（他国政府が参照することがある）ため、公定薬価適用の日本での早期発売は企業にとって不利と見られている。
- したがって、収載時には一定期間メーカー届出価格で保険償還を認め（ただし保険による患者要件等の設定は従来通り行う）、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ってはどうか。
- 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（現在は制度上不可）も可能にしてはどうか。
- なお、上記改革に合わせ、保険適応外使用等について民間保険の活用を図る。

提言：企業届出価格承認制度の創設と民間保険活用スキームの整備

第3の算定制度、企業届出価格承認制度について(1)

(参考) 第1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（9月22日）資料 より

革新的医薬品の医療への貢献



革新的技術を活用した
モダリティ*の多様化



モダリティ*の多様化により、新たな治療選択肢を提供

*治療手段（創薬技術・手法）

4

くすり未来塾

現在の類似薬効比較方式、原価計算方式の
2方式は限界、その他ルールの導入が必要
→ 新規モダリティの出現で、既存の評価
方式は限界（遺伝子型に応じた治療法、
治療効果価値で測るべきデジタル等）

予見可能性のある算定方式が必要

→ 承認届出価格については、薬価推移を
固定

イノベーション、安全保障の評価

→ 企業届出価格承認制度で評価

医療保険財政への配慮

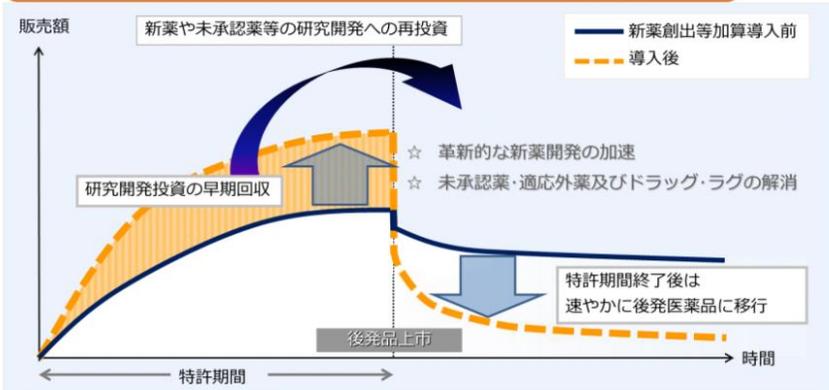
→ 類似薬からの除外
→ 市場拡大の場合、薬価固定を解除
→ 費用対効果の再評価を義務化
→ 薬のライフサイクルで見た医療費を
増やさない

（くすり・未来塾提言IVより）

企業届出価格承認制度について(2)

(参考) 第1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(9月22日)資料より

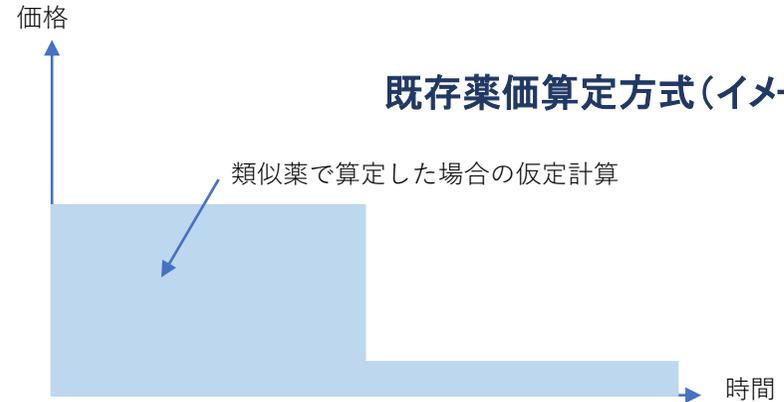
「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」のコンセプト



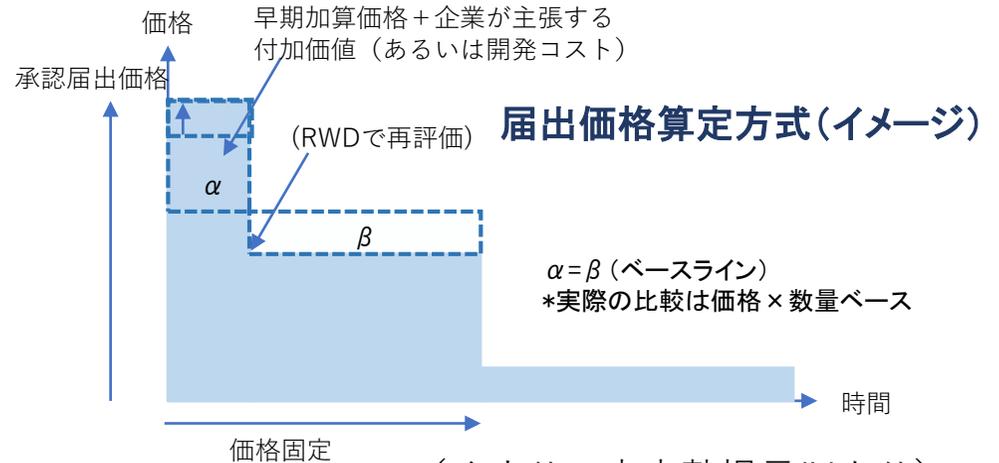
出典：中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 専門委員 資料(2015年11月11日)

企業届出価格承認制度のコンセプト

既存薬価算定方式(イメージ)



届出価格算定方式(イメージ)



(くすり・未来塾提言IVより)



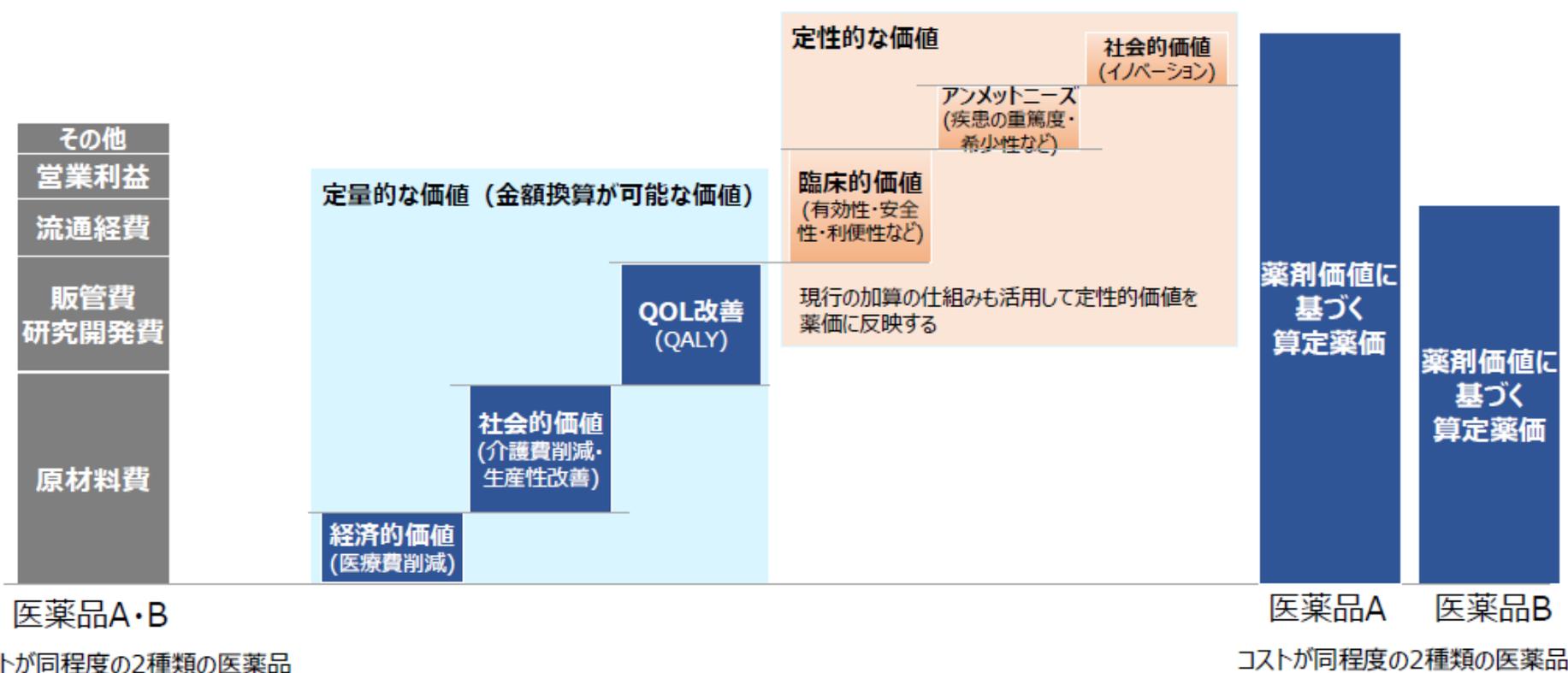
ミクロ的アプローチ：イノベティブ新薬の価値に基づく薬価算定（イメージ）

原価計算方式に代わる新たな算定方式を通じて、イノベティブ新薬の定量・定性的価値の両面を薬価に反映する

現行：原価計算方式
(類似薬が無いケース)



改革案（薬剤価値を反映した新算定方式）





ミクロ的アプローチ：本薬価制度改革提言における再算定に対する考え方

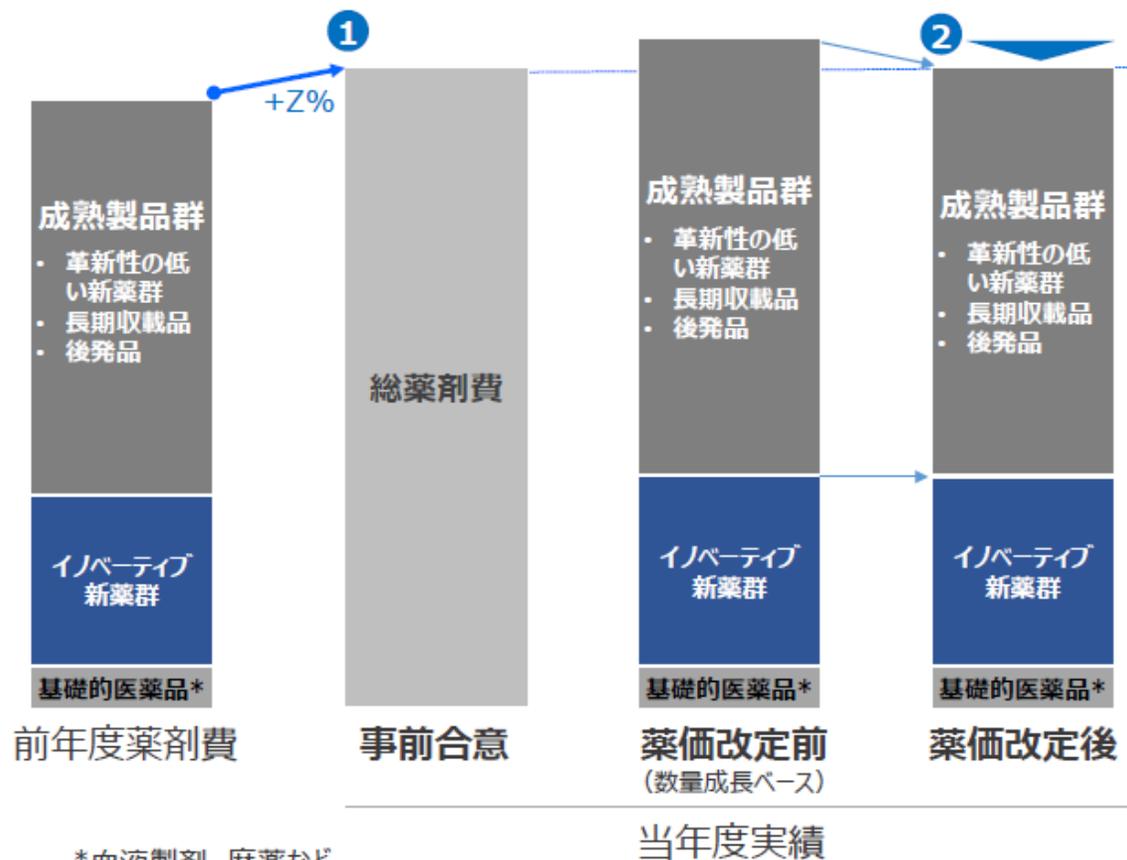
市場拡大再算定および特例拡大再算定は適用除外（廃止）とする

再算定の種類	考え方	2014年度以降の 対象製品数*	主な対象製品
市場拡大再算定	適用除外 (廃止)	76製品	<ul style="list-style-type: none"> ステララ サムスカ ピクトーザ ヤーポイ ノベルジン
特例拡大再算定	適用除外 (廃止)	12製品	<ul style="list-style-type: none"> キイトルーダ ソバルディ リクシアナ
効能変化再算定	適用維持 (現行通り)	2製品	<ul style="list-style-type: none"> ソレア リクシアナ
用法用量変化再算定	適用維持 (現行通り)	6製品	<ul style="list-style-type: none"> オブジーボ キイトルーダ パベンチオ ピンダケル



マクロ的アプローチ（成長率調整メカニズム）による薬価調整メカニズム

合意した薬剤費成長率に合わせて成熟製品群の薬価を広く薄く改定する



1 当年度の薬剤費総額の設定

- 合意された薬剤費成長率（+Z%）に基づき、当年度の総薬剤費規模を設定する

2 マクロ的アプローチに基づく薬価調整

- 成熟製品群の薬価を合意された薬剤費総額に合わせる形で調整する（総薬剤費が上限成長率以下の場合には薬価調整は実施しない）
- 合意総薬剤費に合わせたスライド調整率を設定

$$\text{調整後薬価} = \text{市場実勢価} + \text{改定前薬価} \times \text{スライド調整率}$$
 市場実勢価に調整幅（現行2%）を上乗せする
 現行の改定方式を発展した新方式を導入する
- 現行の新薬創出加算品目はイノベティブ新薬群として薬価調整の対象から除く
 新薬創出加算の企業要件は適用しない
- 血液製剤、麻薬などの基礎的医薬品も薬価調整の対象から除く

医薬品の価値をより適切に評価できるように、既存の有効性・安全性といった観点に加えて、評価する観点を新たに設定すべきではないか

提言1-1: イノベーションの評価拡大と客観的評価の導入

- イノベーションによる価値（有効性・安全性以外）を評価する観点の追加（加算項目の新設）
 - ✓ イノベーションによりもたらされる薬剤の価値を評価する観点を具体的に規定し、その貢献を加算という形で薬価に反映する

評価の観点		
凡例：■ 現在評価に用いられている観点		
<div style="border: 2px solid red; padding: 2px; transform: rotate(-2deg); display: inline-block;">Illustrative</div> 患者に対する価値	臨床的なアウトカムの向上	■ 有効性
		■ 安全性
		□ 利便性
		□ QOL
社会に対する価値	生産性の向上	□ 患者自身の社会復帰
		□ 患者を取り巻くステークホルダーの負担軽減
医療システムに対する価値	医療資源の消費の最適化	□ 診療行為を効率化（ヒト、モノ、カネ）
		□ 診療行為の削減・不要化（ヒト、モノ、カネ）
		□ 薬剤の生産・流通コストの削減・最適化

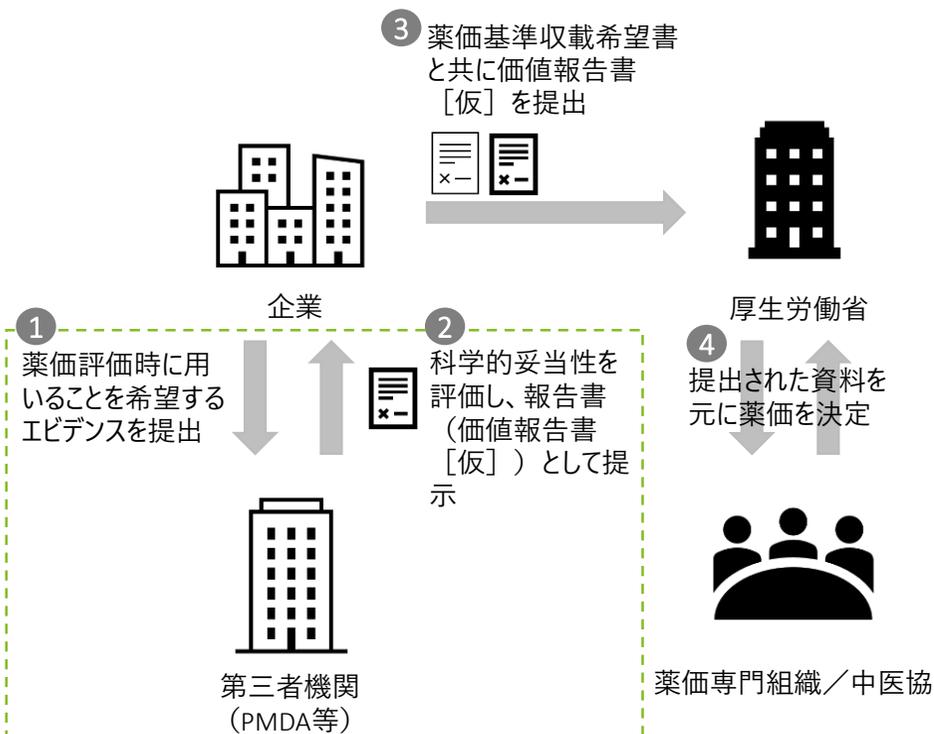
医薬品の多様な価値を適切に評価できるように、審査報告書に掲載されないエビデンスの科学的妥当性を第三者機関によって評価する仕組みを構築してはどうか

提言1-1: イノベーションの評価拡大と客観的評価の導入

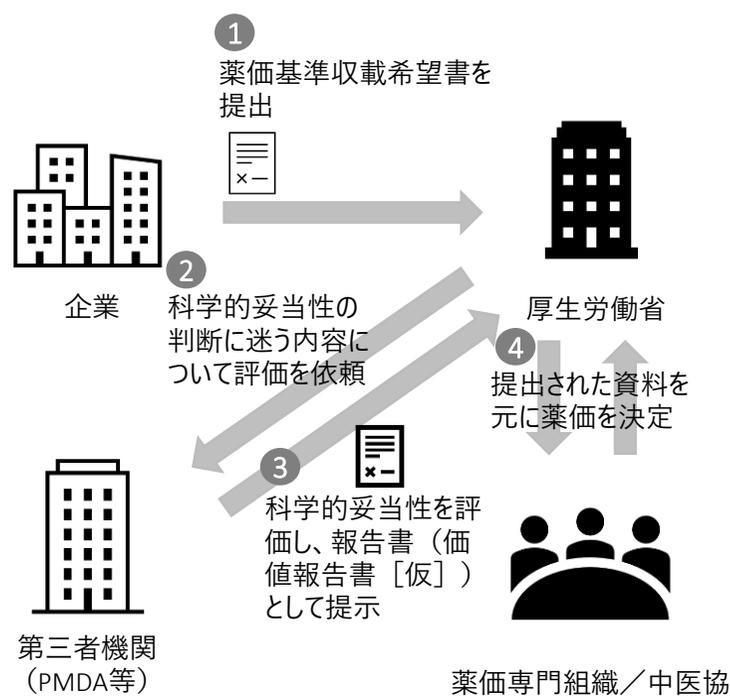
第三者機関による医薬品の価値に関する科学的妥当性の評価の実施

- ✓ 現行の薬価は、審査報告書に記載のエビデンスをベースとして評価されており、有効性・安全性の観点においても評価に用いることができるエビデンスが一部に限られている可能性がある
- ✓ 更に、有効性や安全性などの従来の評価観点以外の新たな内容を評価対象として認めた場合には、審査報告書に記載されていないエビデンスを評価する必要があるため、企業から提出された根拠資料を元に評価する必要がある
- ✓ よって、審査報告書に記載されているエビデンスについて、客観的に科学的妥当性を評価可能な体制を整備してはどうか

[案1] 企業による評価依頼



[案2] 厚生労働省による評価依頼



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を実施することで、より医薬品の評価を適切に行える仕組みを導入してはどうか

提言1-1: イノベーションの評価拡大と客観的評価の導入

➤ 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

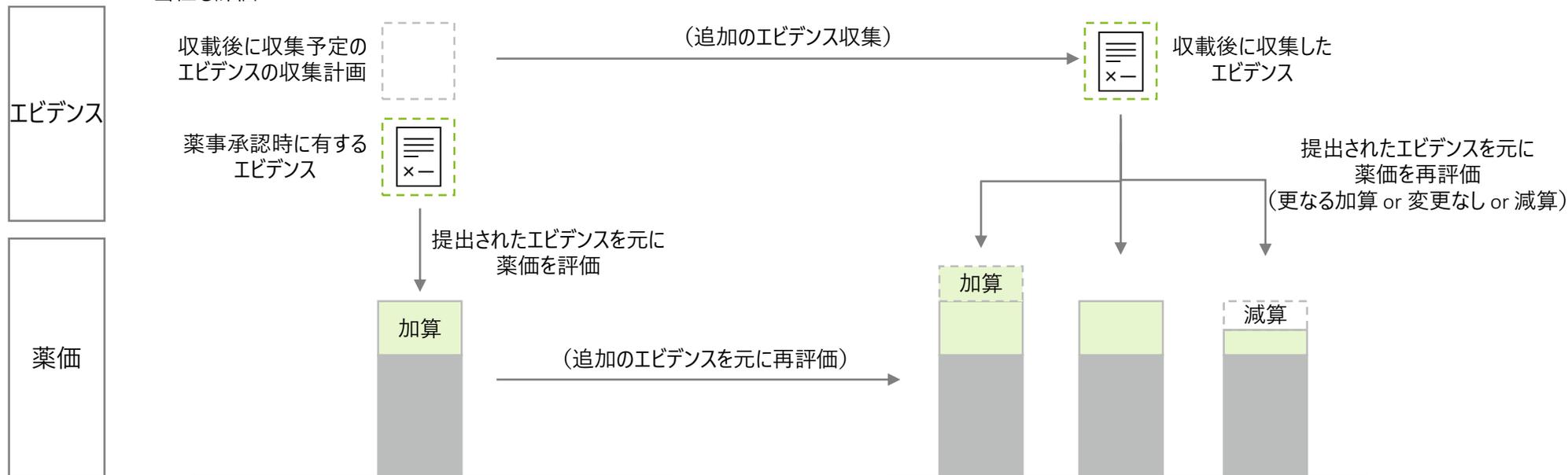
- ✓ 真の有用性加算といった上市後のエビデンスを元に薬価を再評価する制度があるが、エビデンスを収集した結果として薬価に反映される期待値が不明（予見性）であり、また薬価改定のタイミングも限られている
- ✓ また、今後様々な医薬品の価値を評価する場合、薬価収載希望書提出時点にエビデンスが収集されていない場合が多くなると予見される
- ✓ よって、医療機器のチャレンジ申請を参考として、薬価収載時に再評価時の加算の妥当性を評価し、収載後に収集したエビデンスを元に適宜再評価・薬価改定をできる制度を導入してはどうか

薬事承認時

- 薬価収載希望書提出時に有するエビデンス（審査報告書に記載のデータ）による薬価評価
- 同時に、収載後のエビデンス収集計画を元に再評価時の加算の妥当性も評価

収載後のエビデンス収集完了時

- 収載後に収集したエビデンスを元に再評価
- 内容に応じて加算等の価格の変更を評価（エビデンスによっては価格を下げることもありうる）

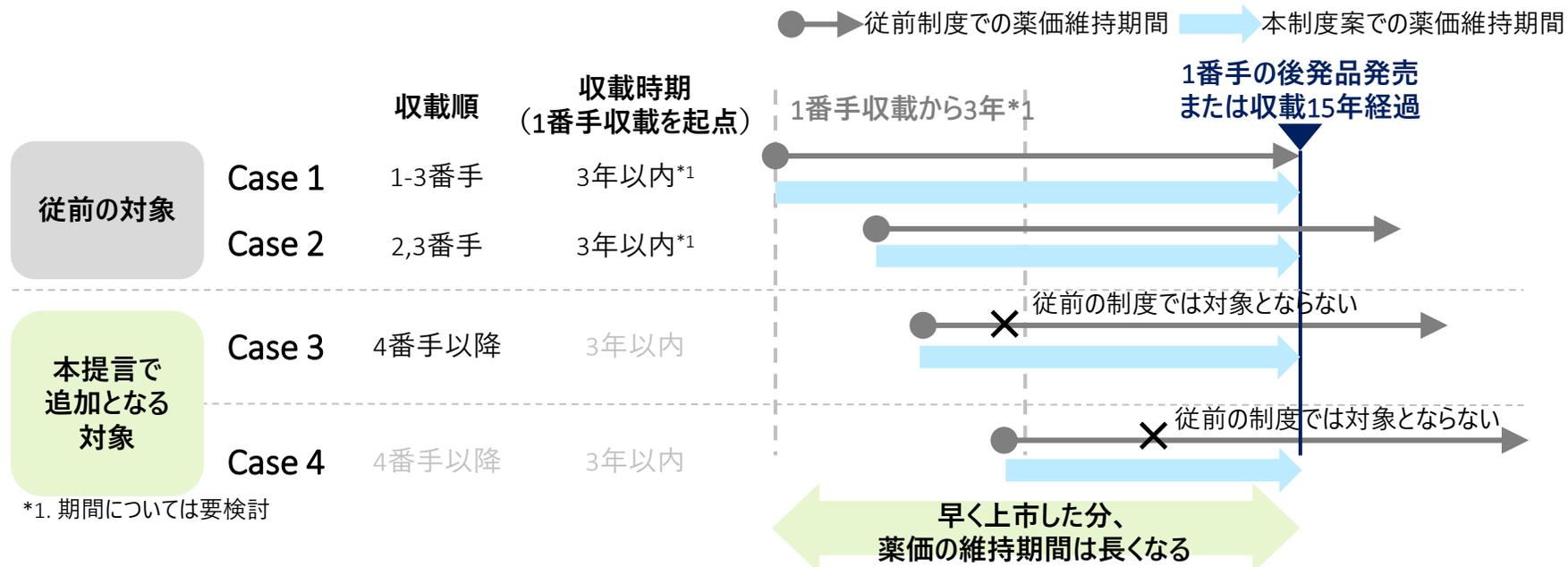


新薬創出加算の該当品目数増加・薬価維持期間の起点変更により、薬価維持期間の長期化に向けて、日本への上市早期化を狙う品目数の増加を図る

提言1-2:新薬創出加算要件の拡大（早期上市品の優遇）

➤ 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

- ✓ 現状の新薬創出等加算は、1: 厳格な要件と2: 自社品の特許期間に基づく薬価維持期間により、予見性の低下を招くと共に、日本への早期上市インセンティブとして十分に機能していない
 - 要件が厳しく、適用品目数が限られる（新規作用機序医薬品の類似薬は、3番手まで）
 - 加算を獲得できれば、収載時期によらず一定期間薬価が維持される（後発品発売または収載15年経過まで）
- ✓ 加算要件および薬価維持期間の変更により、予見性を向上や日本への上市早期化のインセンティブを強化する
 - 予見性の向上：順位による制限を廃止し、期間のみでの適用判断とする（3番手ルール廃止）
 - 早期上市へのインセンティブ向上：薬価維持期間を1番手の収載時期からとすることで、日本での上市時期の早期化が（他国での上市と比較して）優先されるようにする



限られた薬剤費の中では、皆保険制度を保つために再算定制度自体は維持せざるを得ないと考えるが、予見性の低い“共連れ”ルールについては廃止してはどうか

提言1-3: 市場拡大再算定の見直し（予見性向上）

再算定制度の維持

- 再算定制度を廃止した場合、薬剤費が際限なく増大する懸念が払拭できず、皆保険制度の持続性のためには、再算定ルールの維持は必要である
 - 薬剤費の高騰に対し、下記いずれか、あるいは両方の対応が必要
 - (A) 再算定制度等により、一定の範囲内に薬剤費の高騰を抑制
 - (B) 診療報酬／医療費全体の配分見直しや患者負担の増加等による他財源の確保
 - 一方で、再算定制度なしに、他財源の確保で補填し続けることは現実的ではない

市場拡大再算定における共連れルールの廃止

- 一方で、日本市場での予見性を下げる市場拡大再算定の共連れルールは廃止してはどうか
 - 自社薬剤が再算定の起点となるのは、市場予測が実際と異なった結果である一方、共連れの対象となる場合は他社製品の売上に左右されるために予見性が低い
 - 公平な競争環境の維持という名目で導入されているが、市場実勢価格に基づく薬価改定により薬価差が生じることは許容されている

提案する再算定制度

	対象となる主たる薬剤	類似薬
市場拡大再算定	現行維持	共連れルールの廃止
効能変化再算定		
用法用量変化再算定		—