

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料

# 薬価制度改革に対する意見

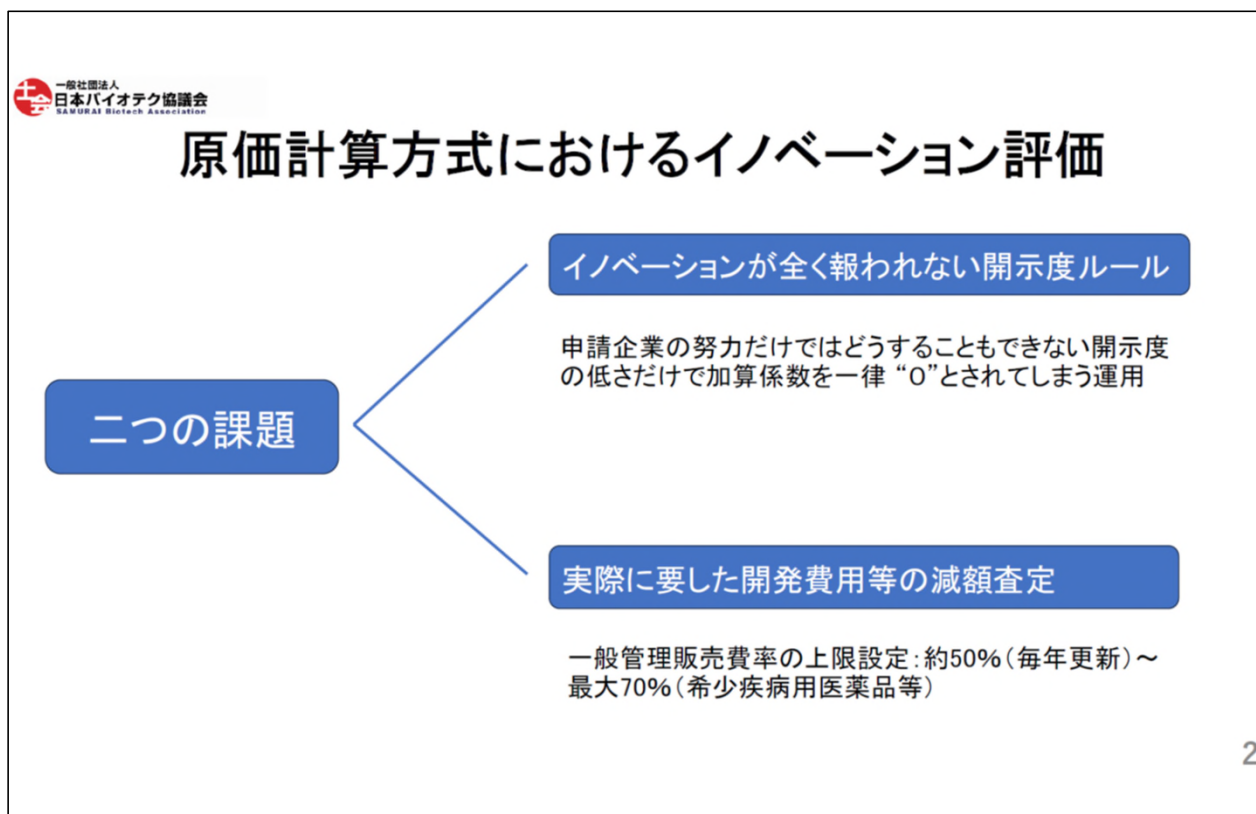
～ 難病・希少疾病用薬のイノベーション評価 ～

2025年12月10日

(一社)日本バイオテック協議会

# 原価計算方式におけるイノベーション評価

弊協議会より提示した原価計算方式における二つの課題について  
ご検討いただいたことに感謝申し上げます。



# 原価計算方式における一般管理販売费率の上限撤廃

- 「希少疾病用医薬品等については、平均的な係数を超えて計算することが妥当と判断される場合は、特例的な上限である70%を超えて計算することも可能であることを明確化すること」に賛同します。
- 「平均的な係数を超えて計算することが妥当と判断される場合」の要件を明示いただき、運用の明確化をお願いいたします。

## 1. (1) 薬価算定方式 (続き)

### 対応の方向性 (案)

#### ③原価計算方式における開示度の向上【骨子による対応】

- 原価計算方式における薬価の原価の開示は重要であり、これまで薬価の透明性を確保するための取組を行ってきたところであるが、開示度が50%未満にとどまり、補正加算が適用されても薬価に反映されない例がある一方、医薬品のサプライチェーンの複雑化により原価の詳細な開示が難しくなっているという状況がある。原価計算方式における開示度の取り扱いについては、今回の薬価制度改革では見直しは行わず、業界団体における開示度向上に向けた努力を継続することを基本とし、今後の原価計算方式における開示度、補正加算の適用の状況を踏まえた上で、次々期制度改革において議論することとしてはどうか。

#### ④原価計算方式における販売費及び一般管理費の計上【運用上の対応】

- 原価計算方式における販売費及び一般管理費の係数について、希少疾病用医薬品等については、平均的な係数を超えて計算することが妥当とされる場合は、特例的な上限である70%を超えて計算することも可能であることを明確化することとしてはどうか。

# 原価計算方式における開示度の取扱い

- 海外の独立企業との取引等、申請企業の努力だけではどうすることもできない開示の難しさがあることをご理解いただけたことに感謝申し上げます。
- 製薬企業として開示度向上に向けた努力を継続します。引き続きのご検討をお願いいたします。

## 1. (1) 薬価算定方式 (続き)

### 対応の方向性 (案)

#### ③原価計算方式における開示度の向上【骨子による対応】

- 原価計算方式における薬価の原価の開示は重要であり、これまで薬価の透明性を確保するための取組を行ってきたところであるが、開示度が50%未満にとどまり、補正加算が適用されても薬価に反映されない例がある一方、医薬品のサプライチェーンの複雑化により原価の詳細な開示が難しくなっているという状況がある。原価計算方式における開示度の取り扱いについては、今回の薬価制度改革では見直しは行わず、業界団体における開示度向上に向けた努力を継続することを基本とし、今後の原価計算方式における開示度、補正加算の適用の状況を踏まえた上で、次々期制度改革において議論することとしてはどうか。

#### ④原価計算方式における販売費及び一般管理費の計上【運用上の対応】

- 原価計算方式における販売費及び一般管理費の係数について、希少疾病用医薬品等については、平均的な係数を超えて計算することが妥当とされる場合は、特例的な上限である70%を超えて計算することも可能であることを明確化することとしてはどうか。

# Appendix

# 医師主導治験により開発された医薬品の 加算対象の見直し

- 医師主導治験は医師自らが治験計画書を作成し治験を実施する。しかし、医療用医薬品として製造販売承認を得るためには出口企業として製薬企業の参画が必要となる。
- 製薬企業が医師主導治験のデータを用いて製造販売承認申請を行う場合でも、製剤開発や治験薬製造、統計解析のサポートやPMDA相談資料作成のサポートなど、薬事申請に向けた企業の業務負担は大きい。
- 市場規模が小さい等、企業が治験実施に消極的な領域においても、診療上の必要性や研究的意義の高さに基づき実施されることが医師主導治験の大きなメリットであり、難病・希少疾病用薬の開発に医師主導治験が果たす役割は大きい。一方で、その研究成果の社会実装には出口企業の協力が不可欠であり、医師主導治験を用いた開発を手掛けることが多い創薬ベンチャーの開発意欲を損なわないためにも、イノベーションに対する適切なご評価をお願いしたい。



## ウルトラオーファン薬開発のインセンティブ

- 現在指定難病として指定されている348疾病のうち、患者数1,000人未満のいわゆるウルトラオーファンは59% (204疾病)、300人以下の疾病は44% (152疾病)であることが確認された。(難病情報センターHP記載情報より当協議会集計)
- 創薬ベンチャーは、大手企業が手掛けない市場規模の非常に小さな難病・希少疾病用薬を開発することが多い。弊協議会会員企業の直近2年間の収載品目6銘柄のうち、5銘柄がピーク時患者数1,000人未満(うち3銘柄はピーク時患者数100人未満)のウルトラオーファンであり、いずれもピーク時販売金額予測は10億円未満となっている。
- 患者数1,000人未満のウルトラオーファン薬の開発については、治験症例数の確保等開発難易度が高い一方、現状の希少疾病用薬に対する市場性加算の加算率(10%~20%)では十分なインセンティブが得られていない。
- 安定供給を確保するためにも、ウルトラオーファン薬の開発意欲が湧く薬価算定上の評価(30%~50%)を希望する。