

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

～ ドラッグ・ラグ/ロスの解消に貢献している創薬ベンチャーへの評価 ～

2023年9月20日

(一社)日本バイオテック協議会

会員企業の現状

- 当協議会の会員企業の約7割は創薬ベンチャーである。
- 従業員数は、多くの企業で100人以下である。特に、20名以下の企業も約4割に及んでいる。
- 多くの会員企業は、売上高研究開発費比率が主要製薬会社の水準を大幅に超えるため、巨額の営業赤字にならざるを得ない(参照: 3頁)。開発品目の多くが難病・希少疾病用薬であり(参照: 10頁)、原価計算方式で薬価算定されることが多い。その場合、患者数が限定的であるため、高薬価でない場合には採算が見込めず、日本での開発を断念し、海外開発を優先する現状がある(参照: 4頁)。
- 大手企業が手掛けない市場規模の非常に小さな難病・希少疾病用薬の開発を手掛ける創薬ベンチャーの開発が滞ることで、今後さらなるドラッグ・ラグ/ロスが進むことが危惧される。
- なお、会員各社は開発期間短縮や費用削減による、より効率的な研究開発を行っている。例えば、医師主導治験による研究開発を積極的に行い、本邦におけるアンメットメディカルニーズの社会実装に貢献している(参照: 11頁)。

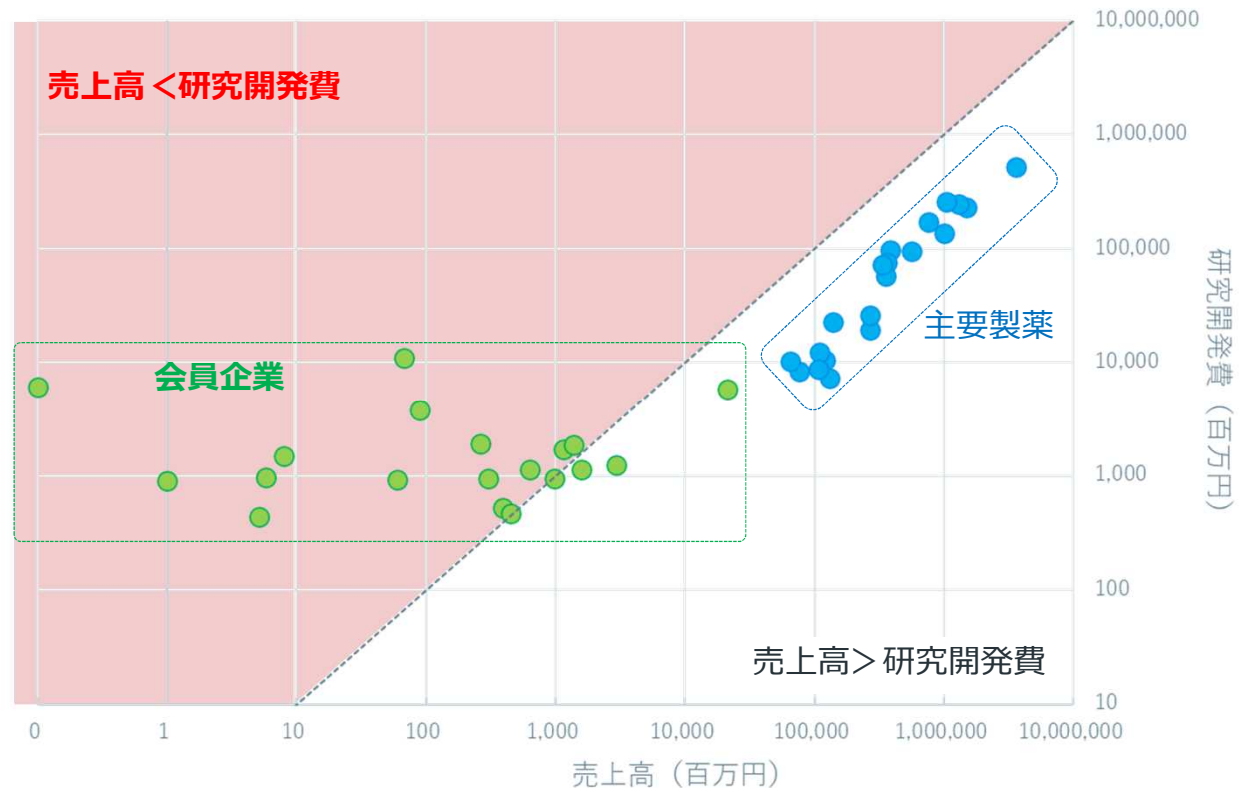
会員企業の経営状況

難病・希少疾病用薬など、市場規模の小さな製品を多く扱っており、投資回収が見込める薬価を期待する。

単位：百万円	売上高		営業利益		研究開発費	
	協議会	主要製薬	協議会	主要製薬	協議会	主要製薬
中央値	300	343,273	▲ 1,205	44,818	1,150	65,338
最小	0	65,176	▲ 16,317	▲ 15,666	435	7,313
最大	21,204	3,578,823	3,799	460,844	10,999	518,774
平均値	1,657	622,653	▲ 2,185	89,948	2,292	104,930
企業数*	19	20	19	20	19	20

協議会（19社）：会員企業43社のうち、主に医薬品開発をおこなっており、有価証券報告書等の公開資料が確認できた下記19社。
アンジェス、LTTバイオファーマ、オンコセラピー・サイエンス、オンコリスバイオファーマ、カイオム・バイオサイエンス、カルナバイオサイエンス、キッズウェル・バイオ、窪田製薬HD、クリングルファーマ、Delta-Fly Pharma、デ・ウエスタン・セラピクス研究所、ナノキャリア、ノーベルファーマ、ファンベップ、メドレックス、ラクオリア創薬、サンバイオ、ヘリオス、ツーセル
出所：有価証券報告書、決算告示

主要製薬（20社）：武田薬品工業、大塚HD、アステラス製薬、第一三共、中外製薬、エーザイ、住友ファーマ、田辺三菱製薬、小野薬品工業、協和キリン、塩野義製薬、大正製薬HD、参天製薬、日本新薬、ツムラ、久光製薬、持田製薬、キョーリン製薬HD、科研製薬、キッセイ薬品工業
出所：SPEEDA（株式会社ユーザベース）、有価証券報告書
出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2023より作成

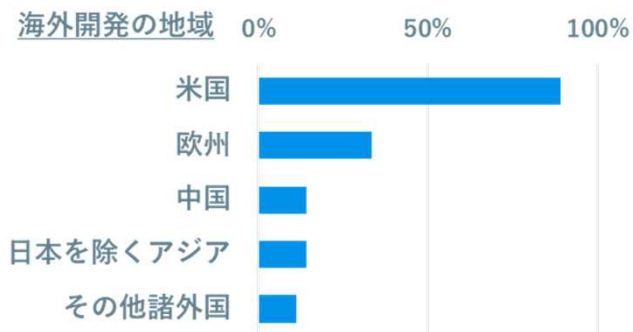
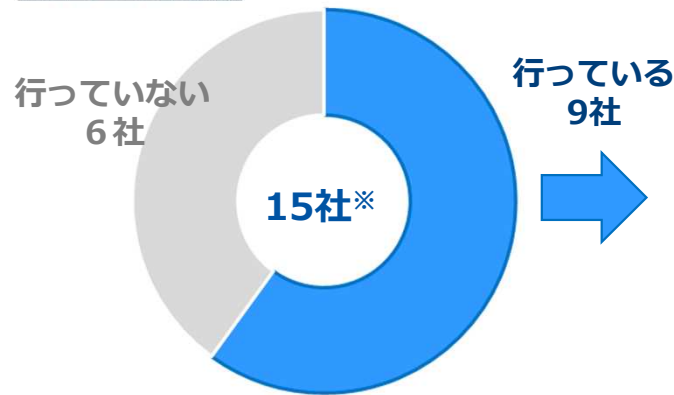


利益がない状況でも研究開発への先行投資を行い、ドラッグ・ラグ/ロス解消に貢献している。

会員企業の海外開発の状況

国内市場だけでは投資コスト回収が期待できないため、海外先行開発を選択せざるを得ない状況にある。薬価が期待できないことが一因である。

海外での事業展開



※会員企業で主に医薬品開発をおこなっている34社へのアンケートのうち、回答のあった15社

日本先行の開発品目がある **2社**

海外先行の開発品目がある **7社**

海外で先行開発を行う理由（サマリー）

- 薬価が期待できる。
- 製剤工夫等による付加価値が価格に反映されやすい。
- 海外であれば事業性が成立する患者数が見込める。
- 薬価水準の高い米国での開発を先行させ経営基盤の安定化を図ることが合理的である。
- 臨床試験の質が高い。
- 市場性・事業性・先進性など。
- その他（薬価関連以外）

（参照：12頁）

脳卒中後痙縮に対する筋弛緩薬貼付剤、がんに対するウイルスを用いた次世代治療薬、プリオン病治療薬、根本的な治療法のない急性腎障害治療薬、etc.

海外先行品目の日本での開発予定

あり	なし
3社（33%）	4社（45%）

日本での開発をためらう理由（サマリー）

- 薬価がまったく期待できないこと。
- 製剤工夫による付加価値が価格に反映されにくい。
- 原価計算方式では低分子医薬品のようなものでは高薬価になりにくい。
- 遺伝子治療などの新しい医薬品でも、既存の医薬品開発と同様の治験と症例数が求められ、そのコストを十分に償却できない薬価となった場合、開発コストの回収が見込めず、承認申請に踏み切れないこともある。
- 日本での患者数では事業性が成立しない。
- 日本における臨床試験に係る課題。
- その他（薬価関連以外）

（参照：12頁）

創薬ベンチャーの薬価算定に対する主張(1/2)

特に、患者数が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が、現状の希少疾病用薬に対する加算率の適用実績では十分なインセンティブが得られていない。ベンチャー企業における費用構造の実態(参照: 6頁)も踏まえ、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が必要である。

新薬創出等加算における企業指標は、新規ベンチャー企業*がポイントを得ることが難しく、企業区分Iに分類されることは難しい(参照: 13頁)。また、ベンチャー要件による企業区分ⅢからⅡへの引き上げ措置も設定されているが、要件がベンチャー企業の実態に即していないため、全ての要件を満たすことが難しい。

ベンチャー要件④の前提条件である「新薬創出等加算の対象となる成分が1つのみである」(導出品を含む)企業

✓ 2017年アンケート: 2社

✓ 2023年アンケート: 4社

革新的新薬を1成分のみ有する会員企業が増加している。ベンチャー企業の医薬品開発が進む一方、ウルトラオーファン薬等の開発を行っても新薬創出等加算の減額を受ける企業が増加していくこととなる。さらに、2成分目の開発が成功するとベンチャー要件④も非該当となる。

医療系ベンチャーの要件等に係るアンケート (2023年9月実施)

	医療系ベンチャーの要件等								全ての要件に該当
	① (a または b)		②	③	要件①、②、③ すべて該当	④ (aかつb)		要件④-a、④-b 両方も該当	
	a	b				a	b		
	中小企業であること (従業員数300人以下)	中小企業であること (資本金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つのみである	当該品目の承認のあった年の前事業年度(過去5年間に限る)において、当期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社	○		○	○	○	○	○	○	○
B社	○		○	○	○	○	○	○	○
C社	○		○	○	○	○	○	○	○
D社	○		○	○	○	○			
E社	○		○	○	○		○		
F社	○	○	○	○	○		○		
G社	○		○	○	○				
H社	○	○	○	○	○				
I社	○		○	○	○				
J社	○		○	○	○				
K社	○	○	○	○	○				
L社	○	○	○	○	○				
M社	○	○	○	○	○				
N社	○	○	○	○	○				
O社	○	○	○	○	○		○		
P社	○	○	○	○	○				
	15	9	14	12	12	4	6	4	3
	94%	56%	88%	75%	75%	25%	38%	25%	19%

100%該当

・アンケート回答企業のうち、**約8割がベンチャー要件非該当であった**。
 ・要件①(中小企業であること)はすべての企業が基準を満たしている(16/16)。
 ・要件②、要件③(他の法人、複数の法人の株式総数又は出資総額の保有割合)は、**創業者が株や資金の過半数を保有する、あるいは複数のVCから多額の資金調達を行うことの多いベンチャーの実態に即しておらず、要件から外れる企業が出てくる**。
 ・要件④は、**市場規模が小さい希少疾病用薬を複数保有することになった場合(会員企業の開発パイプライン参照(10頁、14頁~16頁)は要件から外れてしまう**。

*新規ベンチャー企業: 設立後20年未満のベンチャー企業

創薬ベンチャーの薬価算定に対する主張(2/2)

- 創薬ベンチャーの開発品目は、多くが難病・希少疾病用薬のため、原価計算方式で薬価算定されることが多い。
- 原価計算方式においては、創薬ベンチャーの費用構造を含む実態を調査することなく、企業規模とは無関係な係数を用いて算定される。例えば、一般管理販売費比率(以下、販管費)は、「産業別財務データハンドブック(日本政策投資銀行)」に基づく業界平均値で設定されるが、市販後の固定費(市販後調査費、信頼性保証業務費、販売費等の人件費等)は、販売額の大小に左右されないため、販管費を比率で設定されると、販売額が小さい品目は赤字となる。(出典: 小黒一正・菅原琢磨編著「薬価の経済学」)
- 創薬ベンチャーは、大手企業とは異なり、販売品目が少ない、品目ごとの売上規模が小さい等の結果として、工場の経費や人件費などの固定費部分、すなわち医薬品製造販売業に必要な体制を十分に賄うことができない。
- また、上記に提示した費用は製品個別の費用ではないため、そもそも現行の原価計算方式では計上することができない。そのため、上市後に赤字となり、創薬ベンチャー振興の機運を冷やすこととなっている。

原価計算方式における販管費

計上できる費用	計上できない費用
当該製品の開発に係る研究開発費	事務所開設費、本社設備費
市販直後調査費	薬機法三役体制整備費
製造販売後調査費	バックオフィス(法務部、人事部、広報部、etc.)費
医師・患者向け説明資料(RMPIに即して)	有害事象データベースのプラットフォーム導入費
当該製品の開発に係るロイヤリティ、契約一時金等	調査管理システムのプラットフォーム導入費
	信頼性保証業務システムのランニングコスト(SOP作成、監査、教育研修等)
	情報管理、海外との間のデータ移転費用、契約書の期限管理、各種システムバリデーション費用
	具体的な研究開発に入る前の探索的活動(例:海外・アカデミアシーズの導入検討費用全般)
	知財業務の体制づくり(知財保護、知財侵害調査、GEなどに関連した訴訟費用、etc.)
	法令遵守の体制づくり(法令遵守監督部門の設置など)

< 具体的方策 >

○新規ベンチャー企業に対する評価

ベンチャー要件及び企業区分の見直し: ベンチャー要件について、実態に則さない要件②～④を撤廃し、要件①(中小企業であること)のみを要件とする。また、新規ベンチャー企業が新薬創出等加算の減額措置を受けないよう見直しを行う(参照: 5頁)。

ベンチャー体制整備補正(仮称)の新設: 大手製薬会社に比べて売上高研究開発費比率が高い創薬ベンチャーが承認取得をおこなった医薬品で、原価計算方式が適用されるものについて、一般管理販売費比率をプラス補正する。(参照: 17～18頁)

○開発難易度の高い品目に対する評価

ウルトラオーファン薬開発に対する評価: 大手製薬会社が手掛けない、希少疾病の中でも患者数が特に少ないウルトラオーファン(患者数1,000人未満)の疾病に対する開発意欲が湧く薬価算定上の評価をする。(参照: 19頁)

○その他の評価

医師主導治験等により効能追加した既収載品の加算対象の見直し: 難病・希少疾病用薬の開発に医師主導治験の果たす役割は大きく(参照: 11頁)、資金的体力のないベンチャー企業は特に医師主導治験を活用しているが、現行ルールでは必ずしも加算が認められない(参照: 20頁)。効能追加のイノベーション評価のために、企業の費用負担の程度に係わらず、加算要件を満たす追加効能の場合は加算対象とする。

<企業指標>				<分類方法>			
	指標の内容			区分	I	II	III
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		範囲	上位25%*	I、III以外	2pt以下
A-2	新薬収載実績(収載成分数)(過去5年)	上位25% 4pt 中位50% 2pt		加算係数	1.0	0.9	0.8
A-3	革新的新薬の収載実績(過去5年)	実績あり 2pt		※ 次の全ての要件に該当する企業については、 区分IIIに分類された場合であっても、区分IIとみなす。			
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		① 中小企業であること(従業員数300人以下又は資本金3億円以下)			
A-5	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		② 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			
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		③ 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			
B-2	開発公募品(承認取得数)(過去5年)	1品目について2pt		④ 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前事業年度(過去5年間に限る)において、当期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			
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	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					
※ 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る。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。							

参考資料

日本バイオテック協議会について

- 会員48社（正会員43社、賛助会員5社）
- 2009年7月設立
- 2019年5月一般社団法人化
- 隔月で官民で勉強会を開催、本年7月で第94回
- 目的：官民対話を通じてバイオテックの推進を図り我が国の医療への貢献並びに医療産業及び会員各社の健全な発展に寄与
- 厚労大臣の医療系ベンチャー振興推進会議の構成員15名中5名が会員企業
- 会員企業は、開発要請・公募品目、難病用薬、希少疾病用薬の提供を通して、患者さんの治療に大きく貢献している。

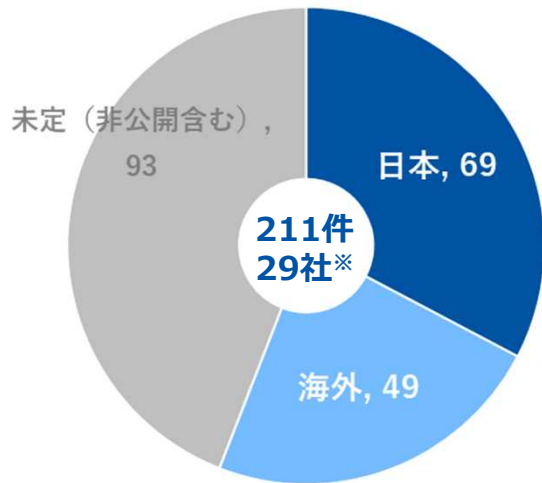
会員企業の開発状況

会員企業は、難病・希少疾病用薬等の開発によってドラッグ・ラグ/ロスの解消に貢献している。

※会員企業全43社のうち医薬品開発を主とする34社のなかで、パイプラインが確認できた29社（2023年9月時点）
出所：会員企業の決算報告書、事業報告書、会社HPなどの公開情報より集計（参照：14頁～16頁）

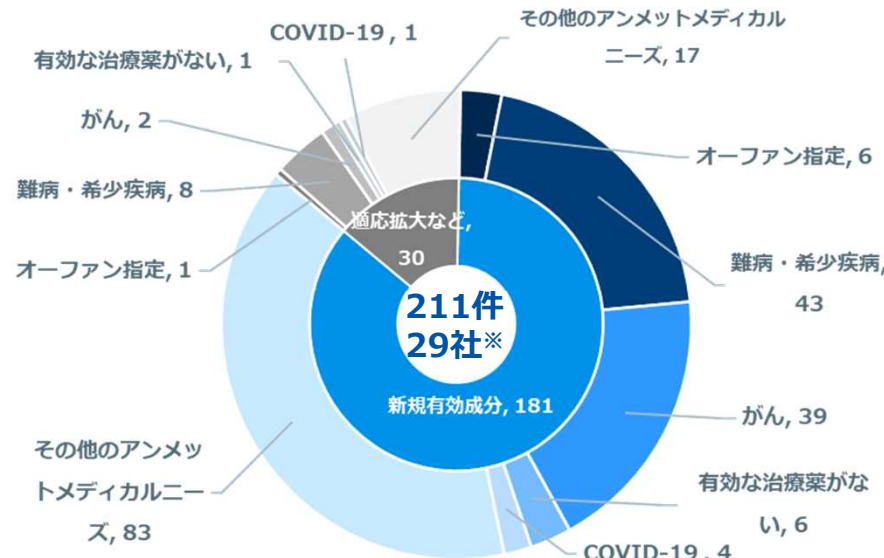
開発地域別のパイプライン数

（グラフ内数字はパイプライン数を示す）



1社当たりのパイプライン数: 約7件

（グラフ内数字はパイプライン数を示す）



パイプラインの予定適応症等（一部）

品目（開発番号）	対象疾患	特記事項
AV-001 Tie2アゴニスト	ARDS	予後の悪い疾患に対する治療薬。
エミクスstat塩酸塩	スターガルト病	小児の遺伝的失明疾患として一番多い疾患、治療薬が存在しない。
組換え型ヒトHGFたんぱく質	声帯瘢痕	QOLが著しく低い。
LT-1001	CIPN予防	抗がん剤治療の副作用。予防薬なし。
P092	プリオン病	治療薬なし。
OBP-601	PSP、FTD、ALS	様々な神経変性疾患への治療薬として開発。
TBP1901（クルクミン）	グリオブラストーマ	脳腫瘍の中で最も難治度が高く、治療法が限られている疾患に対する新たな治療薬。

「オーファン指定」：日本において希少疾病用医薬品指定を受けている品目
「難病・希少疾病」：適応症が指定難病、または企業が難病・希少疾病として開発を進めている品目
「有効な治療薬がない」：企業が「有効な治療薬がない」として開発を進めている品目

成果利用に際し、製薬企業等が得られると思われる メリットに対するアカデミア側・製薬企業側の考え

- 全般に、アカデミアの回答割合が製薬企業等より大幅に高いが、「新規の効能・適応症の利用により開発期間を短縮できる」は製薬企業等の方が回答割合が高い
- 製薬企業等は、1.専門性、2.時間(短縮)、3.コスト(削減)の順に評価
- アカデミアは、リスク(アカデミアが負う)、専門性、コスト(削減)を評価
- 「アカデミアが責任を負うため製薬企業等のリスクは小さい」は、アカデミアは約83%が評価しているが、製薬企業等は約36%と両者の差が大きい
- 「PMDA相談等でアカデミア優遇策の利用によりコストを削減できる」「臨床開発において先導的役割を担うことにつながる」も両者の差が大きい

製薬企業等のコメント	<ul style="list-style-type: none"> ● リスクの評価に差があるが役割分担の認識だと思う[日本企業] <li style="border: 2px solid red; padding: 2px;">● 希少疾病・難病治療薬の開発では医師主導治験は不可欠[日本企業(中堅・ベンチャー)] ● がん領域では製薬企業で行うことができる治験／臨床試験数には資金面・時間面・人材面で限界があるため医師主導は重要[外資企業]
------------	--

海外開発に関するアンケート結果(自由記述欄より抜粋)

海外開発を先行せざるを得ない理由

薬価

- 日本よりも高い薬価が期待できること。
- 製剤工夫等による付加価値が価格に反映されやすいと考えている。
- 薬価水準の高い米国での開発・事業化を先行させ経営基盤の安定化を図る。

市場性・事業性・先進性

- 市場規模の大きさ・成長性がある。
- 米国は世界最大の医薬品市場であり、そこで承認を得ることが世界標準となる近道である。
- 海外であれば事業性が成立する患者数が見込めるため。
- 米国での開発を先行させたうえで日本開発を進めていくことが、経営上合理的である。
- 米国は細胞医療の先進国であり、バイオベンチャーへの投資理解も深く、将来的なビジネス展開を見据え、米国での治験等を先行して進める可能性はある。
- ゲノム編集や遺伝子治療などの最先端テクノロジーを利用した治療薬の開発は、米国が圧倒的に進捗しており米国での開発が合理的である。
- 特許保有地域であり、細胞治療と市場との親和性がある。

臨床試験

- 臨床試験の質が優れている。例えばPOCに関する臨床試験で、特にNew Modalityを用いた場合に、その効果を数多くのバイオマーカーやValidateされた臨床評価システムで多方面から有効性を評価するような臨床試験計画が組まれることがあった。初めからNature ScienceやLancet Oncologyなどへの投稿を念頭に置いて臨床試験計画を組むことが常であるが、まだ日本では追い付いていないと感じる。
- 他国の臨床試験データの利用に積極的かつ柔軟であるため、臨床開発期間が短くコストも低くなると期待されること。その結果、より早く患者に画期的な医薬品を届けるという当社のミッションに適う可能性が高いため。

その他

- 米国のKOLと緊密な関係を構築済みであるため。

日本での開発をためらう理由

薬価

- 薬価がまったく期待できないこと。
- 製剤工夫等による付加価値が価格に反映されにくいと考えている。
- 原価計算方式では、あくまで医薬品原料の値段からスタートするので、低分子医薬品では高薬価が取りにくい。
- 遺伝子治療などの新しい医薬品でも、既存の医薬品開発と同様の治験と症例数が求められ、そのコストを十分に償却できない薬価となった場合、開発コストの回収が見込めず、承認申請に踏み切れないこともある。
- 条件・期限付承認制度についても、制度はあるが、具体的な手続きや明確な基準がなく、手探りのため、期間内に本申請に移れない。

市場性・事業性・先進性

- 日本における当該疾患の患者数では事業性が成立しないため。

臨床試験

- 疾患に対する評価方法などが国内ではよく整備されておらず、ブリッジングも上手くできるかどうかわからない。
- 他国の臨床試験データの利用の障壁が高く、国内での追加試験の実施を要求される可能性が高いため、臨床開発の長期化とコスト増大の恐れが強いこと。その結果、当該製品のNPVが著しく下がる、あるいは日本のみ主要項目の未達を招きかねないため。

新薬創出等加算の企業指標

現行の企業指標

- 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

※）ベンチャー企業については、新薬開発に係る実績・今後の取組みが限られており、企業区分の分類において配慮。

<企業指標>

	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）（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	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

※ 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る、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。

<分類方法>

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

※ 次の全ての要件に該当する企業については、**区分IIIに分類された場合であっても、区分IIとみなす。**

- ① 中小企業であること（従業員数300人以下又は資本金3億円以下）
- ② 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
- ③ 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
- ④ 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前事業年度（過去5年間に限る）において、当期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

新規ベンチャー企業ではポイントを獲得できない

ベンチャー要件が実態に即していない

出所：令和5年7月12日付 中医協 薬-1 33頁
* 日本バイオテック協会が一部加筆

会員企業のパイプライン一覧(1/3)

NO.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
1	オーファン指定	新規	LT-1001/PC-SOD	特発性肺線維症	第2相
2	オーファン指定	新規	LT-1002/PC-SOD NE	特発性肺線維症	第2相
3	オーファン指定	新規	Zokinvy	ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロジェロイド・ラミノパチー	承認申請
4	オーファン指定	新規	サルグラモスチム	自己免疫性肺胞蛋白症	承認申請
5	オーファン指定	新規	アセノイラミン酸	GNEミオパチー	承認申請
6	オーファン指定	適応拡大	ラバリムス	難治性脈管腫瘍	承認申請
7	オーファン指定	新規	NaPPS	ムコ多糖症	第2相
8	難病・希少疾病	新規	LT-1001/PC-SOD	潰瘍性大腸炎	第2相
9	難病・希少疾病	新規	LT-1001/PC-SOD	ARDS	第1相
10	難病・希少疾病	適応拡大	LT-4010	肺線維症	第1相
11	難病・希少疾病	新規	LT-2004	肺動脈性肺高血圧症	基礎
12	難病・希少疾病	新規	ゲノム編集技術による遺伝子治療用製剤開発	ELANE関連重症先天性好中球減少症	非臨床
13	難病・希少疾病	新規	Tie2受容体アゴニスト	ARDS	第2相
14	難病・希少疾病	新規	EF-210	筋強直性ジストロフィー1型	非臨床
15	難病・希少疾病	新規	FZD10抗体	滑膜肉腫	第1相
16	難病・希少疾病	新規	OBP-601	C9-ALS	第2相
17	難病・希少疾病	新規	OBP-601	PSP	第2相
18	難病・希少疾病	新規	AS-1763	慢性リンパ性白血病	第1相
19	難病・希少疾病	新規	エミクススタト塩酸塩	スターガルト病	第3相
20	難病・希少疾病	新規	組換えヒトHGFタンパク質	脊髄損傷急性期	第3相
21	難病・希少疾病	新規	組換えヒトHGFタンパク質	声帯癬痕	第3相
22	難病・希少疾病	新規	組換えヒトHGFタンパク質	ALS	第2相
23	難病・希少疾病	新規	組換えヒトHGFタンパク質	眼科疾患	第2相
24	難病・希少疾病	新規	CLK阻害剤CTX-713	骨髄異形成症候群	第1相
25	難病・希少疾病	新規	SB623	パーキンソン病	非臨床
26	難病・希少疾病	新規	SB308	筋ジストロフィー	基礎
27	難病・希少疾病	新規	クルクミン	多発性骨髄腫	非臨床
28	難病・希少疾病	新規	クルクミン	グリオブラストーマ	非臨床
29	難病・希少疾病	新規	SO-002	神経筋疾患	基礎
30	難病・希少疾病	新規	SO-003	神経筋疾患	基礎
31	難病・希少疾病	新規	神経筋疾患	神経筋疾患	基礎
32	難病・希少疾病	新規	中枢神経疾患	中枢神経疾患	基礎
33	難病・希少疾病	新規	腎疾患	腎疾患	基礎
34	難病・希少疾病	新規	自己免疫疾患	自己免疫疾患	基礎
35	難病・希少疾病	新規	免疫疾患	免疫疾患	基礎
36	難病・希少疾病	新規	心血管疾患	心血管疾患	基礎
37	難病・希少疾病	新規	TAGX-0003	ハンナ型間質性膀胱炎	非臨床

NO.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
38	難病・希少疾病	新規	TAGX-0003	シェーグレン症候群にともなうドライアイ	非臨床
39	難病・希少疾病	新規	TAGX-0004	血栓性血小板減少性紫斑症	非臨床
40	難病・希少疾病	新規	未熟児網膜症治療薬	未熟児網膜症	非臨床
41	難病・希少疾病	新規	DFP-10825	がん腹膜播種転移	非臨床
42	難病・希少疾病	適応拡大	DFP-17729	すい臓がん	第2相
43	難病・希少疾病	適応拡大	DFP-14323	肺がん	第2相
44	難病・希少疾病	新規	DFP-10917	難治性急性骨髄性白血病	第1相
45	難病・希少疾病	新規	DFP-11207	胃がんの再発予防	第1相
46	難病・希少疾病	新規	DFP-14927	骨髄異形成症候群	第1相
47	難病・希少疾病	新規	TUG1	嚙芽腫	非臨床
48	難病・希少疾病	新規	P092	プリオン病	非臨床
49	難病・希少疾病	新規	抗S100A8/A9抗体	炎症性疾患	非臨床
50	難病・希少疾病	適応拡大	ラバリムス	ペンドレッド症候群	第2相
51	難病・希少疾病	適応拡大	ラバリムス	限局性皮質異形成II型てんかん発作	第2相
52	難病・希少疾病	適応拡大	ラバリムス	原発性免疫不全症候群	第2相
53	難病・希少疾病	適応拡大	ラバリムス (ゲル)	CVA	第2相
54	難病・希少疾病	適応拡大	NPC-15	色素性乾皮症	第2相
55	難病・希少疾病	新規	GAIA-102	神経芽腫	第1相
56	難病・希少疾病	新規	FPP003	強直性脊椎炎	第1相
57	難病・希少疾病	新規	NaPPS	HTLV-1関連脊髄症	第2相
58	難病・希少疾病	新規	エルトブラジン	パーキンソン病	第2相
59	がん	新規	EF-105	がん	基礎
60	がん	新規	EF-153	がん	基礎
61	がん	新規	がんワクチン	食道癌	第3相
62	がん	新規	がんワクチン	膀胱がん	第2相
63	がん	新規	がんワクチン	頭頸部癌	第2相
64	がん	新規	がんワクチン	固形癌	第1相
65	がん	新規	がんワクチン	胃癌	第1相
66	がん	新規	低分子MELK阻害剤	白血病	第1相
67	がん	新規	低分子MELK阻害剤	乳癌	第1相
68	がん	新規	OBP-702	固形癌	非臨床
69	がん	新規	テロメライシン	食道癌	第2相
70	がん	新規	テロメライシン	胃癌	第2相
71	がん	新規	テロメライシン	肝細胞癌	第1相
72	がん	新規	ADCT-701	がん	非臨床
73	がん	新規	PCDC	がん	非臨床
74	がん	新規	PTRY	がん	非臨床
75	がん	新規	LIV-2008	がん	非臨床
76	がん	新規	CBA-1205	がん	第1相

会員企業のパイプライン一覧(2/3)

N0.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
77	がん	新規	CBA-1535	がん	第1相
78	がん	新規	AS-0141	がん	第1相
79	がん	新規	GND-004	がん	非臨床
80	がん	適応拡大	ペバシズマブ	がん	非臨床
81	がん	適応拡大	ベグフィルグラスチム	がん	非臨床
82	がん	新規	新規抗体	がん	基礎
83	がん	新規	新規抗体	がん	基礎
84	がん	新規	CDK12阻害剤CTX-439	固形がん	非臨床
85	がん	新規	GCN2阻害剤CRD-1968099	固形がん	非臨床
86	がん	新規	CLK阻害剤CTX-712	急性骨髄性白血病	第1相
87	がん	新規	CLK阻害剤CTX-712	固形がん	第1相
88	がん	新規	MALT1阻害剤CTX-177	リンパ球系血液腫瘍	第1相
89	がん	新規	新規プログラム	固形がん	基礎
90	がん	新規	MSC 1	がん疾患	基礎
91	がん	新規	LAT1インヒビター	胆道がん	非臨床
92	がん	新規	ナンブランラト	胆道がん	第3相
93	がん	新規	OKY-034	すい臓がん	第2相
94	がん	新規	クルクミン	大腸がん	非臨床
95	がん	新規	SO-001	がん	非臨床
96	がん	新規	DFP-14927	固形がん	第1相
97	がん	新規	NC-6100	乳がん	第1相
98	がん	新規	HLCN061	固形がん	非臨床
99	がん	新規	EP4拮抗薬	がん	第1相
100	有効な治療薬がない	新規	LT-1001/PC-SOD	化学療法誘発性末梢神経障害	第2相
101	有効な治療薬がない	新規	AS-0871	慢性特発性蕁麻疹	第1相
102	有効な治療薬がない	新規	マラリア	マラリア	基礎
103	有効な治療薬がない	新規	TAGX-0003	円形脱毛症	非臨床
104	有効な治療薬がない	新規	CKD	腎炎	基礎
105	有効な治療薬がない	新規	DWR-2206	水疱性角膜炎	非臨床
106	有効な治療薬がない	適応拡大	NPC-18	外耳道再生	第3相
107	COVID-19	適応拡大	LT-4012	COVID-19	第1相
108	COVID-19	新規	新型コロナウイルス感染症DNAワクチン	COVID-19	非臨床
109	COVID-19	新規	OBP-2011	COVID-19	非臨床

N0.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
110	COVID-19	新規	クルクミン	COVID-19	非臨床
111	COVID-19	新規	FPP006	COVID-19	非臨床
112	その他	新規	HS-001	重症心不全	第2相
113	その他	新規	LT-3001	炎症性疾患	非臨床
114	その他	新規	LT-3002	COPD	非臨床
115	その他	新規	LT-2001/AS-013	慢性動脈硬化症	第3相
116	その他	適応拡大	LT-5001	神経領域	第3相
117	その他	新規	LT-1001/PC-SOD	心筋梗塞	第2相
118	その他	新規	LT-1001/PC-SOD	脳梗塞	第2相
119	その他	適応拡大	LT-4002	ドライアイ	第2相
120	その他	適応拡大	LT-5001	神経領域	第2相
121	その他	新規	LT-1001/PC-SOD	腎疾患	第1相
122	その他	新規	LT-1002/PC-SOD NE	COPD	第1相
123	その他	適応拡大	LT-4001	COPD	第1相
124	その他	適応拡大	LT-4004	非開示	第1相
125	その他	新規	LT-2003	慢性動脈硬化症	基礎
126	その他	新規	pitolisant	ナルコレプシー	第3相
127	その他	新規	pitolisant	閉塞性睡眠時無呼吸症候群に伴う日中の過度の眠気	第3相
128	その他	適応拡大	ジアゼパム点鼻液	てんかん重積発作またはてんかん重積状態に至る恐れのあるけいれん発作	第3相
129	その他	新規	NF- κ BデコイオリゴDNA	腰痛症	第2相
130	その他	新規	高血圧治療用DNAワクチン	高血圧	第2相
131	その他	新規	HGF遺伝子治療用製品	慢性動脈閉塞症	第1相
132	その他	新規	HGF遺伝子治療用製品	慢性動脈閉塞症	承認申請
133	その他	新規	HGF遺伝子治療用製品	慢性動脈閉塞症	承認申請
134	その他	新規	EF-230	中枢神経疾患	基礎
135	その他	新規	EF-242	神経・筋疾患	基礎
136	その他	新規	EF-298	神経・筋疾患	基礎
137	その他	新規	低分子TOPK阻害剤	未開示	非臨床
138	その他	新規	A β 抗体	アルツハイマー型認知症	第1相
139	その他	新規	OBP-801	眼科領域	非臨床
140	その他	新規	BMAA	非開示	非臨床
141	その他	新規	Kinase	精神疾患	非臨床
142	その他	新規	DGK		第1相
143	その他	新規	ALK5		基礎
144	その他	新規	CDK12阻害剤CTX-439		基礎
145	その他	新規	STING	自己免疫疾患	基礎
146	その他	新規	GND-004	眼科疾患	非臨床
147	その他	適応拡大	アダリムマブ	免疫疾患	非臨床

会員企業のパイプライン一覧(3/3)

N0.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
148	その他	適応拡大	バリビズマブ	感染症	非臨床
149	その他	適応拡大	アフリバルセプト	眼疾患	非臨床
150	その他	新規	GND-007	免疫疾患	基礎
151	その他	新規	エミクススタト塩酸塩	増殖糖尿病網膜症	第2相
152	その他	新規	組換えヒトHGFタンパク質	急性腎障害	第1相
153	その他	新規	SB623	加齢黄斑変性	非臨床
154	その他	新規	SB623	網膜色素変性	非臨床
155	その他	新規	SB623	脊髄損傷急性期	非臨床
156	その他	新規	SB618	末梢神経障害 等	非臨床
157	その他	新規	MSC 2	炎症性疾患	非臨床
158	その他	新規	MSC 2	視神経炎	非臨床
159	その他	新規	SB623	外傷性脳損傷	第2相
160	その他	新規	SB623	脳梗塞	第2相
161	その他	新規	SB623	脳出血	第2相
162	その他	新規	SB623	外傷性脳損傷	承認申請
163	その他	新規	SB623	アルツハイマー病	基礎
164	その他	新規	LAT1インヒビター	自己免疫疾患	非臨床
165	その他	新規	クルクミン	変形性膝関節症	非臨床
166	その他	新規	gMSC*1	外傷性膝軟骨損傷、離断性軟骨炎	非公開
167	その他	新規	gMSC*2	脳梗塞	非公開
168	その他	新規	gMSC*3	早期変形性膝関節症	非公開
169	その他	新規	gMSC*4	慢性腎臓病	非公開
170	その他	新規	gMSC*1	外傷性膝軟骨損傷、離断性軟骨炎	第3相
171	その他	新規	DW-1002	内境界膜染色	第3相
172	その他	新規	H-1337	緑内障・高眼圧症	第2相
173	その他	適応拡大	DW-1001	眼科用治療薬	第1相
174	その他	新規	DW-5LBT	帯状疱疹後神経疼痛	承認申請
175	その他	新規	RUNX1	変形性膝関節症	非臨床
176	その他	適応拡大	ホストイン	帯状疱疹後神経痛	第3相
177	その他	新規	抗CMV抗体	CMV感染症	第2相
178	その他	新規	スコラミン	流延	第2相
179	その他	適応拡大	サルグラモステム	肺非結核性抗酸菌症	第2相
180	その他	新規	NPC-25	低亜鉛血症	承認申請
181	その他	新規	FPP004X	花粉症	非臨床
182	その他	新規	FPP005	乾癬	非臨床
183	その他	新規	SR-0379	皮膚潰瘍	第3相
184	その他	新規	FPP003	乾癬	第2相
185	その他	新規	HLCR011	網膜色素上皮裂孔	非臨床
186	その他	新規	HLCL041	代謝性管疾患、その他肝疾患	非臨床
187	その他	新規	HLCM051	脳梗塞急性期	第3相

N0.	カテゴリー	成分の新規性	成分	適応症	ステージ
188	その他	新規	HLCM051	急性呼吸切迫症候群	第2相
189	その他	新規	HLAホモ血小板	輸血	第2相
190	その他	新規	HLAヌル血小板	輸血	基礎
191	その他	新規	iMDF	未開示	基礎
192	その他	適応拡大	メマンチン	アルツハイマー	非臨床
193	その他	適応拡大	チザニジン	痙性麻痺	第1相
194	その他	適応拡大	フェンタニル	中枢性鎮痛	第1相
195	その他	適応拡大	リドカイン	帯状疱疹後神経疼痛	承認申請
196	その他	適応拡大	ジクロフェナク・リドカイン	慢性疼痛	基礎
197	その他	新規	EP4拮抗薬	変形性膝関節症	非臨床
198	その他	新規	CB2作動薬	鎮痛	非臨床
199	その他	新規	モチリン受容体作動薬	胃不全麻痺機能性胃腸症術後イレウス	非臨床
200	その他	新規	グレリン受容体作動薬	癌に伴う食欲不振、脊髄損傷に伴う便秘	非臨床
201	その他	新規	TRPM8遮断薬	疼痛	非臨床
202	その他	新規	ナトリウムチャネル遮断薬	慢性疼痛	非臨床
203	その他	新規	EP4拮抗薬	疼痛	第2相
204	その他	新規	COX2阻害薬	疼痛	第2相
205	その他	新規	P2X7受容体拮抗薬	疼痛	第2相
206	その他	新規	カルシウムイオン競合型アシッドブロッカー	胃食道逆流症	第1相
207	その他	新規	5-HT4作動薬	胃不全麻痺機能性胃腸症慢性便秘	第1相
208	その他	新規	5-HT2B作動薬	下痢型過敏性腸症候群	第1相
209	その他	新規	NaPPS	変形性膝関節症	第2相
210	その他	新規	エルトプラジン	ADHD	第2相
211	その他	新規	エルトプラジン	総失調症	第1相

一般管理販売費率に対するプラス補正

【原価計算方式のイメージ】

※赤字・赤字が見直し部分

- 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

① 原材料費
② 労務費
③ 製造経費
④ 製品製造（輸入）原価
⑤ 販売費・研究費等
⑥ 営業利益
⑦ 流通経費
⑧ 消費税
合計：算定薬価

(有効成分、添加剤、容器・箱など)

(= 3,657^{注1} × 労働時間)

プラス補正

$(5 / (4 + 5 + 6)) \leq 0.506^{\text{注2}}$

$(6 / (4 + 5 + 6)) = 0.155^{\text{注2}}$

$(7 / (4 + 5 + 6 + 7)) = 0.075^{\text{注3}}$

(10%)

ただし、開示度 $\geq 80\%$ の化成品及び開示度 $\geq 80\%$ かつ研究費開発費だけで販管費率上限(50.6%)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29年~令和元年)の平均値)を用いることが原則

- 既存治療に比し高い有用性等が認められる場合には、上記の算定薬価に補正加算を加える
- 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

加算額 = 価格全体 × 加算率 × 加算係数
(加算前価格)

開示度※	80%以上	50~80%	50%未満
加算係数	1.0	0.6	0.2 → 0

※開示度 = (開示が可能な薬価部分) ÷ (製品総原価：①、②、③、⑤)

出所：令和4年3月4日版 厚生労働省保険局医療課「令和4年度薬価制度改革について」25頁

* 日本バイオテック協議会が一部加筆

仮想事業性評価 ベンチャー体制整備補正の影響 * 想定患者数:1,000人

【前提条件】一般管理費販売費(研究開発費を除く)1.0億円 研究開発費7.4億円 ロイヤリティ1.0億円+売上の5%

		一般管理販売费率70%	販管費補正+15% (一般管理販売费率 80.5%)
製造原価		20円	20円
販管費	一般管理費販売費	50.13	50.13
	研究開発費	370.99	370.99
	ロイヤリティ(算定薬価で変動)	56.71	80.76
一般管理販売費(計)(実費との差額)		92.11(▲409.78)	555.17(+53.29)
営業利益(16.6%)		24.78	114.48
計(1)		149.25	689.66
流通経費(7.1%)		11.41	52.71
計(2)		160.66	742.36
消費税(10.0%)		16.07	74.24
推定算定薬価 (一日薬価)		176.70円	816.60円
投資回収期間	開発から	N/A	13年
	発売から	N/A	7年
IRR(10年)		N/A	5.5%
ROI(10年)*1年あたり		-7.3%	3.4%
NPV(10年)		-4.5億円	-1.2億円
ピーク時売上	年	上市後3年目	上市後3年目
	売上高	0.41億円	1.9億円

用語解説	
回収期間 (法)	投資した金額が、何年で回収できるかを計算することで、投資の意思決定を行う方法である。もし回収期間が自社がガイドラインとして定めた期間よりも短い場合には投資を実行し、長ければ投資をしないという判断となる。
IRR	Internal Rate of Returnの略称で、日本語では内部収益率。投資案件を評価する指標のひとつ。投資によって得られる将来のキャッシュフローの現在価値と、投資額の現在価値が等しくなる割引率のこと。
ROI	Return On Investmentの略称で和訳は投資利益率。投下した資本に対してどれだけ利益が上がったかを表す指標。
NPV	Net Present Valueの略称で日本語では正味現在価値。投資や事業が生み出すキャッシュフローを現在価値に換算した総和から、初期投資額を差し引いたもの。差額がプラスで値が大きいほど投資や事業の経済的価値が高いと判断される。

出典【回収期間(法)】FINCH (<https://www.finchjapan.co.jp/1613/>)
【IRR・ROI・NPV】野村証券ホームページ 証券用語解説集
(<https://www.nomura.co.jp/terms/>)

指定難病の患者数分布

治療方法が確立していないこと等から、現在338疾病が指定難病として指定されている。希少疾病は5万人未満と定義されているが、指定難病のうち過半数が患者数1,000人未満のウルトラオーファン、ほぼ半数が患者数300人以下の疾病である。

患者数1,000人未満： 192疾病(57%)
患者数300人以下： 162疾病(48%)
患者数100人以下： 111疾病(33%)

(難病情報センターHP記載情報より当協議会集計)

新設

ウルトラオーファン加算の新設案 (現行市場性系加算の上位に新設)

ウルトラオーファン加算 (30~50%)

次の要件を全て満たす新規収載品

- イ 患者数300人以下の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。
- 当該新規収載品の比較薬がウルトラオーファン加算の適用を受けていないこと

+

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。
- 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、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。
- 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

問 107-5D 後発品収載後 10 年以内に前倒しの G 1 ルールが適用される場合、当該長期収載品は G 1 品目における撤退スキームの対象となるのか。対象となる場合、スキームに則り後発品企業に対して増産意向の確認を行うのか。また、その場合であっても一価格帯への集約は後発品収載後 12 年を経過した後の薬価改定であることは変わらないという理解でよいか。

(答) 通常の G 1 品目と同様、G 1 品目に該当した場合は撤退の判断を行うこととなる。
なお、G 1 品目に係る後発品については、第 3 章第 7 節 2 のとおり最初の後発品の新規収載後 12 年を経過した後の薬価改定において同節に則って価格帯の集約が行われる。

第 4 節 既収載品の薬価改定時の加算

問 107-6 対象となる既収載品は、例えば、平成 30 年度薬価改定であれば、平成 27 年 11 月から平成 29 年 10 月までに、小児又は希少疾病に係る効能及び効果もしくは用法及び用量が追加されたもの、真の臨床的有用性が直接的に検証されたことが公表されたものとの理解でよいか。

(答) そのとおり。

問 107-7A 薬価の改定方式について、「本規定の適用前の価格に」とされていることから、例えば、第 3 節 2 の「後発品収載後 10 年を経過した長期収載品の後発品価格への引下げ」が適用された品目においても、第 1 節にて算定された額ではなく、第 3 節 2 までに算定された額に別表 2 から得られる補正加算率を乗じて得た額を用いて算定するのか。

(答) そのとおり。

問 107-7B 希少疾病に係る効能効果等を追加した場合、収載後の加算の該当性はどのように評価されるのか。

(答) 原則として、薬機法に基づく希少疾病用医薬品に指定されている効能効果又は用法用量の一部変更承認を取得し、薬機法に基づく再審査の対象とされているものを加算の対象とする。ただし、本加算は、企業における希少疾病への効能拡大等のインセンティブとなるよう導入されたという趣旨にかんがみ、以下の品目は、加算の対象外としている。

- ① 自ら臨床試験を実施せずに、既存の文献等に基づき、公知申請として承認を取得した場合や医師主導治験の結果に基づき承認を取得した場合など、**開発に当たっての当該企業の負担が相当程度低いと考えられるもの**
- ② 既に希少疾病用医薬品として承認を取得した効能と類似の効能を追加したり、当該既存効能に係る対象患者の限定を解除したりしたものであり、新たな希少疾病用医薬品としての開発というよりも、従前効能の対象患者拡大に相当し、開発リスクが低かったと考えられるもの
- ③ 薬価算定時の比較薬が、今回対象となる希少疾病に関して市場性加算（Ⅰ）の適用を受けている場合など、申請品目の薬価収載時に、既に当該希少疾病に関する評価を考慮した算定が行われていると考えられるもの

問 107-7C 小児に係る効能効果等を追加した場合、収載後の加算の該当性はどのように評価されるのか。

(答) 原則として、小児に係る効能効果又は用法用量の一部変更承認を取得し、薬機法に基づく再審査の対象とされているものを加算の対象とする。

ただし、本加算は、当初成人用製剤として開発された品目について、企業における小児適応への拡大のインセンティブとなるよう導入されたという趣旨にかんがみ、以下の品目は、**加算の対象外**としている。

- ① 自ら臨床試験を実施せずに、厚生労働省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」等での検討結果や既存の文献等に基づき、公知申請として承認を取得した場合や医師主導治験の結果に基づき承認を取得した場合など、**開発に当たっての当該企業の負担が相当程度低いと考えられるもの**

- ② もともと小児疾患を対象として開発され、薬価収載時にその点を考慮した算定が行われており、作用機序からみても、小児が主となる疾患に関して効能追加等が行われることが当然想定されるもの

問 107-7D 市販後に真の臨床的有用性を検証したデータが公表された品目の場合、収載後の加算の該当性はどのような資料により判断されるのか。

(答) 原則として、国際的に信頼できる学術雑誌で公表されたデータにより、真の臨床的有用性 (true endpoint でみた場合の臨床的有用性) が直接的に検証されていると判断されるものを加算の対象とする。

真の臨床的有用性の判断は、以下のデータに基づき行う。

- ① 承認時に評価されたエンドポイントと異なるエンドポイントをみたデータであること。
- ② 承認時 (効能追加等に係る一部変更承認を含む。) に提出された臨床試験成績と異なる臨床試験に係るデータであること。
- ③ 承認の効能・効果、用法・用量の範囲内で行われた臨床試験のデータであること。
ただし、本加算は、surrogate endpoint で承認された品目について、企業が、市販後に調査成績を集積し、真の臨床的有用性を直接的に検証することを評価する目的で導入されたという趣旨にかんがみ、**以下の場合には加算の対象外**とする。
 - ① 当該データが、自ら関与した臨床試験の結果ではなく、大学等の研究機関や学会が独自に実施した臨床試験成績に基づくものである場合など、**当該企業の負担が相当程度低いと考えられるもの**
 - ② 申請品目の承認時には surrogate endpoint による承認が主流であったが、学会等における臨床評価の考え方の変更等により、最近承認された類似薬では、当該申請品目が検証した true endpoint での成績が求められるのが通例となっている効能・効果に属するもの
 - ③ 過去に市場拡大再算定の対象となり、その際に真の臨床的有用性が検証されているとして補正加算が適用された品目 (市場拡大再算定対象品と同率の補正加算が適用された類似品を含む。) においては、その際に評価の対象とした効能・効果に関するデータが提出されていないもの (補正加算を適用した効能・効果と別の効能・効果に関するデータが提出されている場合は評価の対象)
 - ④ 承認条件などに基づき企業が実施した臨床試験

第 5 節 再算定

1 市場拡大再算定

(1) 市場拡大再算定対象品

問 108 イ (ロ) 「原価計算方式以外の方式」とは「類似薬効比較方式」か。

(答) 類似薬効比較方式 (Ⅰ)、(Ⅱ) のほか、組成、剤形区分及び製造販売業者等が新薬と同一の新薬算定最類似薬がある場合の算定方法 (規格追加等の算定)、キット製品に係る算定方法を含む。

問 109 対象となる要件は、平成 7 年中医協建議にあるとおり「収載時に選定された比較対照薬との類似性が損なわれた場合」でよろしいか。また、その内容は、次の平成 7 年 12 月 26 日医療課長通知どおりか。

- ① 準公的な使用基準 (学会ガイドラインなど) が変更された場合
- ② 収載当初、主として重症、中等症の患者に使用されることを想定した医薬品が軽症患者まで拡大された場合
- ③ 算定時想定した使用対象患者、使用方法、使用量等が実態として変わった場合
- ④ 薬事法の用法用量、効能効果に変更し、その市場が拡大した場合

(答) イ (ロ) のとおり、「薬価収載後に当該既収載品の使用方法の変化、適用対象患者の変化その他の変化により、当該既収載品の使用実態が著しく変化した」場合を要件としており、その具体的な例として①～④が想定される。なお、これらの要件に該当すれば、比較対照薬

米国新興バイオテック企業の 日本市場上市に関する課題と 解決に向けた提案

2023年9月20日

米国バイオテクノロジーイノベーション協会（BIO）

Biotechnology Innovation Organization (BIO)

米国バイオテクノロジーイノベーション協会（バイオ）

- 米国ワシントンDCに本部。
- ヘルス、農業、環境分野における中小から大手のバイオテクノロジー企業を代表。会員には研究機関、大学、医薬品製造受託機関(CMO)、および開発業務受託機関(CRO)も含まれる。
- 世界最大のバイオテクノロジーアドボカシー団体であり、バイオテクノロジー革新の最前線にいる1,000以上の会員を擁している。会員の70%は小規模企業(新興企業)。
- 大規模な日本代表団も参加する「BIO国際会議」やその他のイベントを主催。過去には、バイオインダストリー協会(JBA)と共催で「BIOアジア日本会議」を開催した。
- ミッション:教育、協力、アドボカシー活動を通じて、グローバルなバイオテクノロジーのエコシステムを強化し、世界的な課題に対する新たな解決策を育むことを目指している。BIOは、これらの目標達成のため、日本バイオテク協議会(SBA)やバイオインダストリー協会(JBA)などの団体と緊密に協力している。
- BIO会員の日本市場への関心の高さを踏まえ、BIOでは日本国内における活動を改めて見直し、年内に日本を訪問して課題を確認・検討することを予定している。

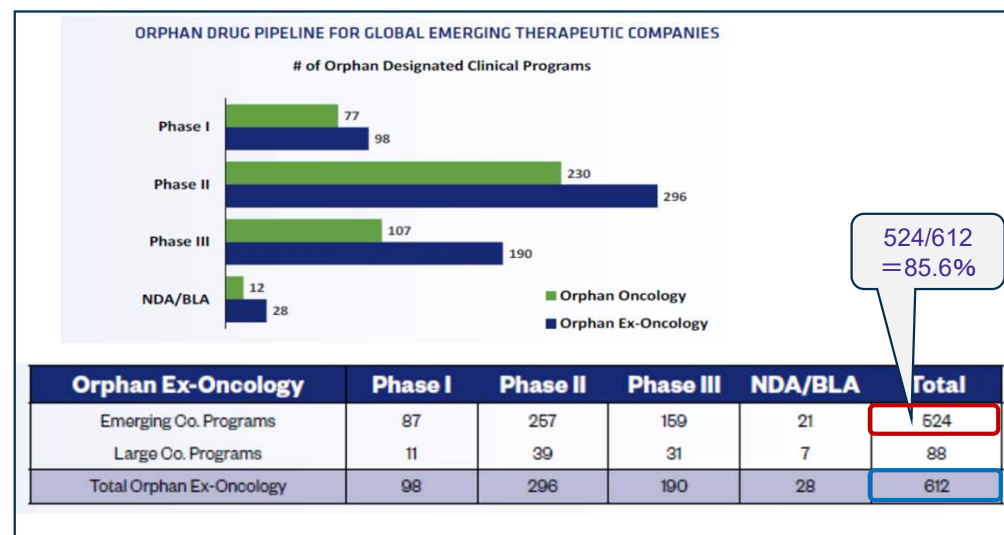
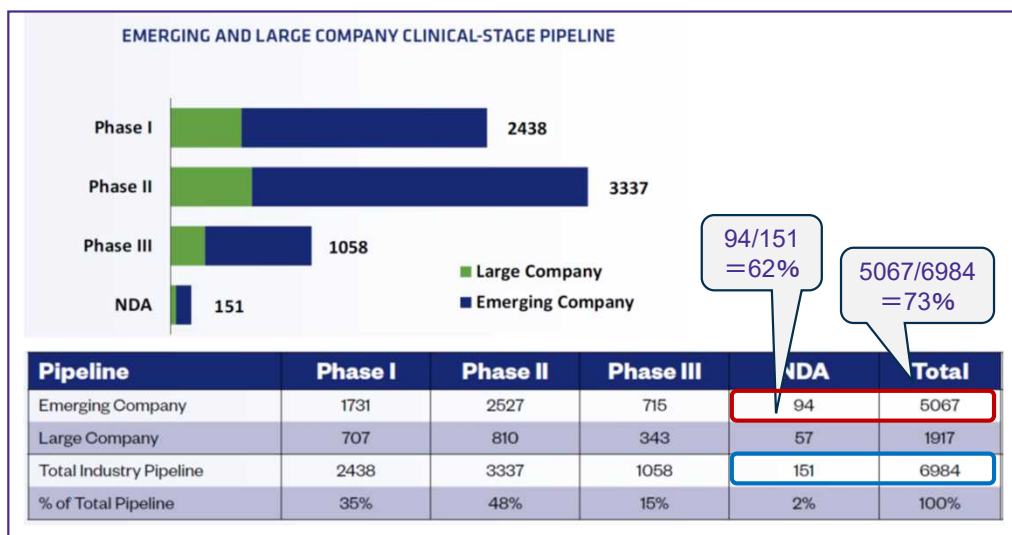


BIOに加盟している「新興企業」について

- BIOでは「小規模バイオテクノロジー企業」を「新興企業」と称し、その定義を「研究開発段階の医薬品開発企業、または上市段階にあるが、その売上高が10億ドル未満の企業」としている。*

注) 政府レベルで決められた「新興企業」の定義はなく、各国省庁によって異なる。

- 「新興企業」は、最先端イノベーションの最前線にて活動している。**
- 世界における医薬品パイプライン（臨床試験実施中6,984件）のうち、5,067件（73%）が「新興企業」が携わって開発中。
- 臨床開発中の希少疾病指定医薬品の85%を「新興企業」が占める。
- FDAに提出された151件のNDA/BLA***のうち94件(62%)が「新興企業」単独による。



*, **: 2019 Emerging Therapeutic Company Trend Report. David Thoms and Chad Wessel. BIO Industry Analysis. 2019

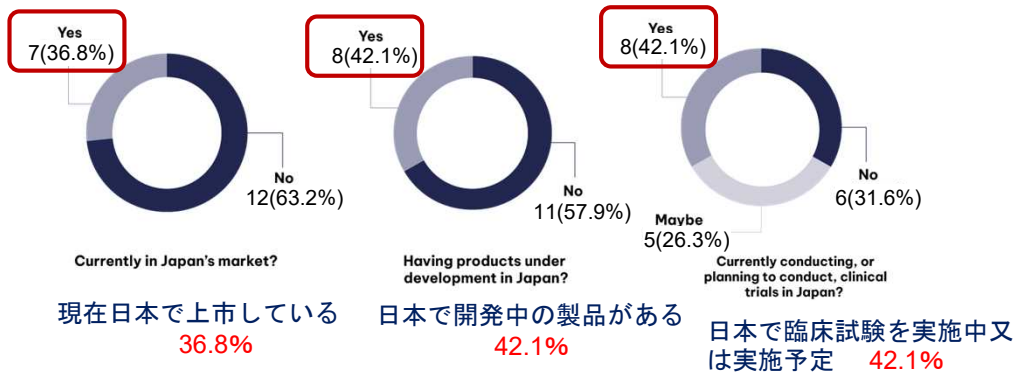
*** 米国食品医薬局 (FDA) に自社の薬剤/新規生物製剤を米国で販売しマーケティング活動をするための承認を得るための申請

NDA: New Drug Application (新薬承認申請), BLA: Biologics Licensing Application(新規生物製剤承認申請)

BIOアンケート調査結果

すでに日本市場と関わりを持っている、又は関わりを持つ予定のある「新興企業」は日本市場を重要と考えているものの、大きな障壁が存在すると感じている。

Involvement in Japan's Market



日本は重要市場、しかし...

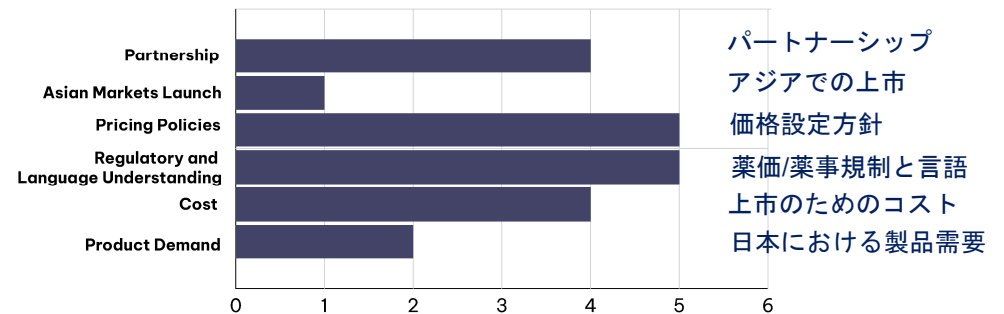
- 価格と投資利益率
- 承認と薬価収載プロセス
- 言語・文化的障壁

回答した19社の企業規模（従業員数）

25人未満：7社 (36.8%)
 100から150人：4社 (21.1%)
 300から1,000人：4社 (21.1%)
 15,000人以上：3社 (15.8%)
 25人から100人：1社 (5.2%)

* BIOメンバー200社 (BIOの「小規模企業グループ」および「国際関係委員会」のメンバー)にアンケート送付。2023年9月15日時点で19社が回答。

Considerations To Enter Japan's Market



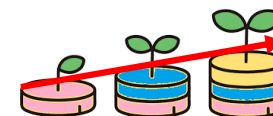
日本での上市を検討した結果断念した理由

- 薬価制度
- リソース
- 上市までのコスト
- 現地企業との関係構築
- 言語・文化的障壁

米国拠点新興企業の日本市場に対して感じている課題

日本市場は薬事承認取得後、速やかに薬価が掲載される点に魅力を感じる一方、以下の課題が挙げられる。

- | | |
|-----------------|--|
| 投資利益率(ROI) | 断念した理由:上市のための先行投資費用と利益見通し(初期薬価設定から投資利益を得るまで)が障壁。 |
| 医薬品開発から上市にかかる規制 | 例) <u>上市した製品の収益を、次の製品の開発の原資にするため、収益(薬価)が重要。</u>
海外市場に関する知識とリソースに乏しいベンチャー企業が開発するイノベーティブな薬剤に対する規制上の緩和が無い。 |
| 上市にかかる提携先 | |
- 第3相試験および反復用量設定試験を含む規制要件に課題がある。
 - 日本の制度は特に複雑で手続きもわかりにくく、先駆的医薬品指定制度などのメリットのある制度をうまく活用するのが難しい。
 - 米国又はグローバルなバイオテック産業が日本の規制を理解する場や機会が少ない。日本政府との定期的な対話機会が少ない。
 - 新興企業の多くは、単独で開発から上市まで行うには莫大なコストとリソースが必要と考えており、医薬品開発・供給の初期段階として、日本企業との提携を開拓する必要があると考えているが、出会いの場が必要とされる。
 - 現状では出会いの場がないことから、新興企業にとって日本の開発環境は早期バイオテック研究開発には適していないと感じている。



(BIOメンバーからの意見、アンケート調査及びヒアリング結果より)

米国拠点新興企業の日本市場への提言

米国拠点の新興企業は、日本市場は重要と考える一方、薬価制度が安定でないこと、薬事・薬価規制要件が複雑で多岐にわたることを障壁と感じている。

日本の市場への新興企業のモチベーション向上のために、BIOメンバーからの意見、アンケート調査及びヒアリング結果を踏まえて以下を提言する。

投資利益率
(ROI)

先行投資費用と利益見通しの透明性と予見性向上(初期価格設定と承認取得以降の投資利益取得におけるプロセス)

- **特許期間(再審査期間)薬価維持**(ベンチャー企業により開発される革新性の高い医薬品の特許期間)
- **新薬創出等加算の企業要件の見直し**(新興企業は区分Iに該当しないため、薬価改定時に新薬創出等加算が0.9掛けに減額されるが、開発する企業に区分を設けるのではなく、開発する医薬品そのもので薬価を評価する仕組みにして貰いたい。)
- **承認時の薬価算定に関する予見性向上**(原価計算の困難さの改善等)

医薬品開発から
上市にかかる規制

規制緩和と日本固有の規制への理解度の向上

- **米国およびグローバルなバイオテック産業と保険当局・行政当局との定期的な対話機会**の設定
- **言語の規制緩和**: 医薬品の承認書及び添付資料・照会事項等において、申請者とPMDA合意のもとで、各資料は日本語と英語いずれかを正本で提出可(副本の言語は任意)とし、不随するコミュニケーションはいずれの言語でも可能とする。(リソース/翻訳コスト削減)

上市にかかる
提携先

JETROや他の日本の政府機関とともに、日本に関心を寄せる海外の新興企業と日本の提携先との結びつきや、日本市場への参入と製品上市をより円滑に行うための規制・産業振興・支援策の設置。



參考資料

Lessons From the Rise and Fall of Japan's Life-Sciences Innovation Ecosystem

日本のライフサイエンス・イノベーション・エコシステムの盛衰からの教訓

TUESDAY, APRIL 4, 2023, 12:00 PM TO 1:15 PM EST

WHAT ARE SOME POLICY RECOMMENDATIONS FOR JAPANESE AND GLOBAL POLICY MAKERS IN LIFE SCIENCES

生命科学分野における日本と世界の政策立案者に対するいくつかの政策提言

(前略)

FINALLY, RECOGNIZE THAT COMPANIES REALLY HAVE TO EARN REVENUES TO SUSTAIN INNOVATION AND TRANSPARENCY, UNPREDICTABILITY IN DRUG PRICING IS KEY FOR INVESTMENT. THE SITUATION IN JAPAN WITH PRICES FOR ON PATENT AND DRUGS THAN OTHER COUNTRIES IN R&D CANNOT BE RECOVERED, MAKES THE MARKET LESS ATTRACTIVE THAN OTHER COUNTRIES FOR THE LAUNCH NEW DRUGS, WHICH IS WHY THE DRUG LAUNCH LAG HAS ACCELERATED IN JAPAN OVER THE PAST DECADE AND HAS A NEGATIVE IMPACT ON JAPAN'S FAIRLY INVOLVED.

企業がイノベーションと透明性を維持するためには、企業が収益を上げなければならないこと、薬価の予測不可能性は日本への投資にとっての重要なカギとなることを認識するべきです。日本では、他国よりも市場の魅力が低く、過去10年間で日本での上市の遅れが加速し、日本における薬剤の公正な取引に対して悪影響を及ぼしています。

IN OTHER WORDS, IF YOU WERE, YOUR ABILITY TO GET THAT PREMIUM WAS LINKED TO HOW MANY PRODUCTS YOU EITHER LAUNCHED IN JAPAN OR INITIATED IN JAPAN. WELL, I WAS WORKING IN THE BIOTECH ASSOCIATION, 70% OF ALL THE NEW PRODUCTS IN THE US ARE INITIATED BY SMALL COMPANIES. GUESS HOW MANY OF THEM HAVE PREVIOUSLY LAUNCHED PRODUCTS IN JAPAN? ZERO. SO HOW MANY OF THEM ARE GOING TO LAUNCH, ARE GOING TO GET THESE PRICE MAINTENANCE PREMIUMS IN JAPAN? NONE.

日本でどれだけ多くの製品を上市したか、あるいは日本でどれだけ多くの製品を開発したかが、薬価のプレミアムの獲得につながります。バイオテクノロジー協会で仕事をしていた時に、アメリカでは新製品の70%が小規模な会社によって開発されたものでしたが、その中で日本で製品を上市したことがある会社は0でした。

ではそのうちの何社が日本で上市し、価格維持のプレミアムを獲得しているかということとNONE (0) です。

(中略)

JAPAN CONTINUED TO SORT OF BE BEHIND, LAG BEHIND CHANGES IN INDUSTRY STRUCTURE. OKAY, THIS BIG ECOSYSTEM OF BIOTECH INDUSTRY, BIOTECH, SMALL BIOTECH COMPANIES DOING ALL OF THIS INNOVATIVE RESEARCH AND DEVELOPMENT WAS RELATIVELY A NEW PHENOMENON. IT REALLY TOOK OFF IN THE EARLY 21ST CENTURY, PARTNERING WITH THOSE COMPANIES AND FORMING THEIR OWN ECOSYSTEM LIKE THAT IN JAPAN WOULD'VE BEEN THE THING TO DO.

日本は産業構造の変化から遅れ続けてきました。バイオテクノロジー産業、バイオテクノロジー、小規模なバイオテクノロジー企業が革新的な研究開発を行うという大きなエコシステムは、比較的新しい現象でした。そのような企業と提携し、日本でそのような独自のエコシステムを形成するべきでした。

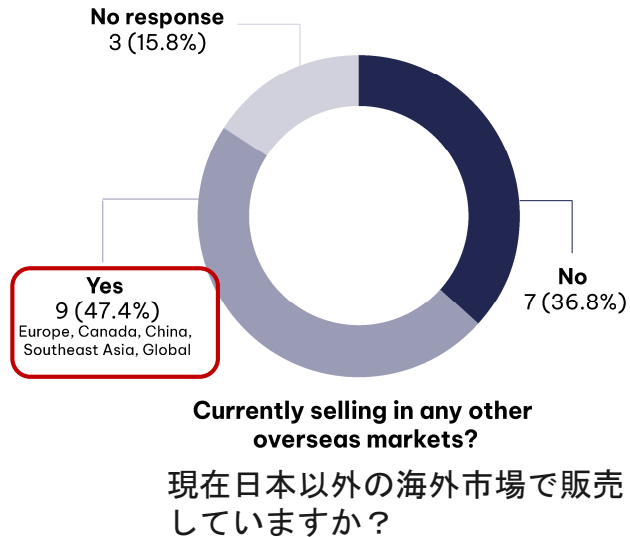
* ITIF : 情報技術・イノベーション財団 (非営利組織)、2006年に設立されたワシントンD.C.に拠点を置く米国の非営利公共政策シンクタンクで研究教育機関。ペンシルベニア大学は ITIF を科学技術政策における卓越性の世界基準を設定したシンクタンクとして、また米国全体のシンクタンクのトップ 40の 1 つとして認めている。

<https://itif.org/events/2023/04/04/lessons-from-japans-life-sciences-innovation-ecosystem/>

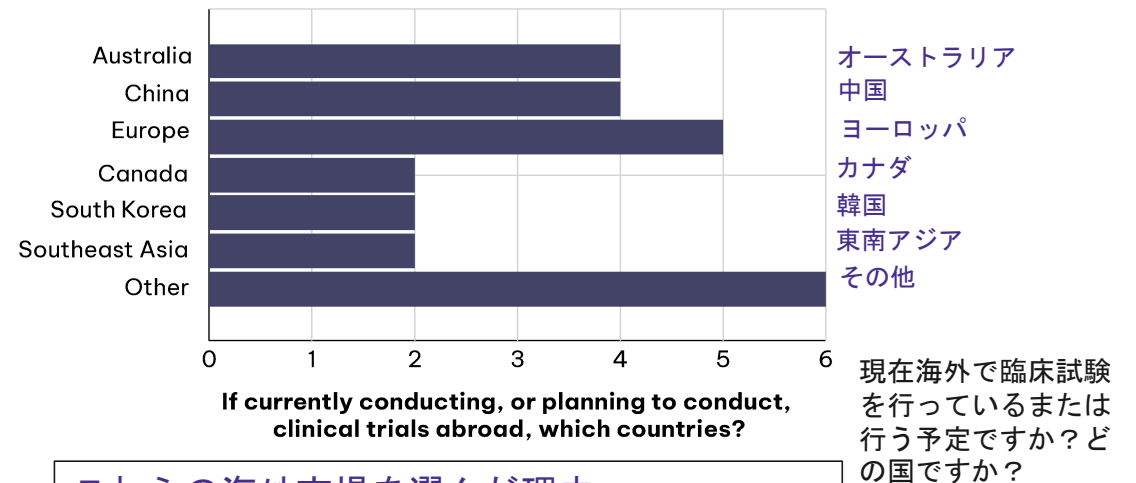


アンケート調査： 日本以外の海外市場で医薬品販売を行っている新興企業

Involvement In Other Overseas Markets



Involvement In Other Overseas Markets



これらの海外市場を選んだ理由

- 税控除、その他税優遇措置
- 当該政府のバイオテック産業への投資額、および製品需要
- 原材料調達のしやすさ、患者データの質の高さ、上市コストの低さ
- 患者数、規制のスピード

追加検討課題

今回のアンケートに加え、BIOは、ライフサイエンス分野の再構築のために厚生労働省への検討課題を提言する白書を作成中である。BIOは、ライフサイエンス分野が日本経済の成長エンジンとなり、海外の新興企業を誘致し、差し迫ったドラッグ・ラグを逆転させるためには、いくつかの「ブル型インセンティブ」が必要だと考える。

1. リミテッド・パートナーシップ(LP)による日本拠点のVCへの投資促進

- 製薬会社が日本の新興バイオ医薬品に投資するライフサイエンスVCにLP投資する場合、売上高の0.1%までの税額控除を受けることができるようにする。
- または、保険当局が日本の新興バイオファーマに投資するライフサイエンスVCへのLP投資による革新的医薬品の価格引き下げを相殺する。

2. VCセクターの成長を促進するため、製薬企業からバイオテック企業へ転職する人材にインセンティブを与える。具体的例として:

- 企業が倒産した場合、1年間の給与全額を保証する特別失業保険を創設する。
- スtockオプションへの課税を、所得(最大58%)ではなくキャピタルゲイン(20%)とする。

3. 日本を拠点とする新興バイオファーマへの投資および買収を奨励する。

4. 新興バイオファーマが開発した製品に市場独占権の延長を認める。

- 例えば、設立5年未満の企業や売上高2億ドル未満の企業が臨床POCを達成した製品など。

5. 産学連携の支援と強化

- 大学の技術移転オフィスへのさらなる投資
- 大学医学研究者の間で、特許制度の意義を強調する取り組みが増えれば、医薬品特許をより肯定的にとらえることができる。

ベンチャー企業による医薬品開発について 開発から上市までの費用の観点からの課題

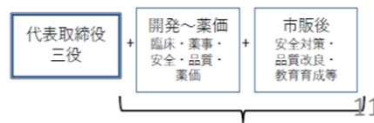
2023/01/13
第7回 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた
総合対策に関する有識者検討会資料より引用

開発から上市までの費用について

- ◆ メガファーマに比べて長期間にわたる開発に必要な予算確保が難しい。
- ◆ 本邦において最初の医薬品開発の場合、成功の可否判断が難しく、リスクを避けるためにも、先行投資の人員が最小限に絞られる。(新医薬品の承認取得から上市のためには第1種医薬品製造販売業許可の取得が必要であり、そのために代表取締役と三役(総括製造販売責任者、品質保証責任者及び安全管理責任者の設置が義務付けられている。これに加えて、開発要員等の設置が必要となる。)
- ◆ 人員が絞られる結果、医薬品の開発から申請のみならず、薬価収載や市販後の案税対策等についても、外部契約機関(CRO: 医薬品開発業務受託機関(Contract Research Organization)の略)を利用する必要性がある。その結果、費用がかさむ。

【提案】

開発から市販後におけるベンチャー企業の資金に関する支援制度を設けてはどうか。



Amicus
Therapeutics

日本で医薬品を開発するメリットと課題 薬価制度の観点から

2023/01/13
第7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資料より引用

薬価制度の観点から

- ◆ 国民皆保険制度があり、保険収載までの期間が短く、基本的には確実に収載される。一度薬価収載されたら削除されることは(基本的に)無い。
- ◆ 特許(再審査期間)中も薬価が引き下げられる仕組みである。
- ◆ 新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度がある。
- ◆ ベンチャーの場合、薬価上の措置として、ベンチャー要件に該当する企業については、区分Ⅲに該当する企業であっても区分Ⅱとみなされる。

【提案】

製薬企業自体を区分する制度の見直しの検討をしてはどうか。
特許期間中/再審査期間中の新医薬品の薬価を維持することで、本邦における医薬品開発の優先度・価値を高めることが期待される。

12

Amicus
Therapeutics

ベンチャー企業の医薬品開発に関する海外ビジネスモデル

2023/01/13

第7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資料より引用

資金調達の見点から

- ◆ 米国では資金調達手段として、M&AやIPO (Initial Public Offering) などがある。短期的には赤字でも、中長期的に企業価値があると判断されると継続的な資金調達が見込める。
- ◆ 米国ではシーズの開発段階であっても、IPOによる資金調達が可能である。日本では成功確率が確認され、実績のある企業が開発を確定した後にIPOが行われることが多いのではないかと？
- ◆ 米国ではシーズ段階での医薬品開発を資本家・機関投資家が投資（ビジネス）の対象とすると同時に、社会貢献としてとらえる視点がある。
- ◆ 日本では躊躇されることが多いと思われるので、医薬品としての開発着手の遅れや断念の確立が欧米に比べて高いと思われる。

【提案】ベンチャー企業の医薬品の開発支援のための資金調達や大手企業とのパートナーリングの機会を提供する場を恒常的に提供できないか。

13