

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第 209 回） 議事次第

令和 5 年 9 月 20 日（水）9：30～

議 題

○関係業界からの意見聴取について

意見陳述者一覧

日本製薬団体連合会 会長 岡田 安史

日本製薬工業協会 会長 上野 裕明

日本ジェネリック製薬協会 副会長 川俣 知己

米国研究製薬工業協会 在日執行委員会 委員長 シモーネ・トムセン

欧州製薬団体連合会 会長 岩屋 孝彦

再生医療イノベーションフォーラム 代表理事会長 志鷹 義嗣

日本バイオテック協議会 会長 山田 英

米国バイオテクノロジー イノベーション協会 代表代理 海老原 恵子

日本医薬品卸売業連合会 会長 宮田 浩美

(敬称略)

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料

次期薬価制度改革に対する意見

2023年9月20日

日本製薬団体連合会
米国研究製薬工業協会
欧州製薬団体連合会

イノベーションの推進と国民皆保険の持続性を両立し 患者の革新的新薬へのアクセス向上を実現

【新薬の評価に係る目指すべき姿】

- **革新的新薬の価値が新規収載時に適切に薬価に反映される仕組み**
 - ✓ 新規モダリティなどの特性に応じた価値評価
 - ✓ 患者・家族の社会生活上の価値評価
 - ✓ 革新的新薬を日本に迅速に導入する仕組み
 - ✓ 柔軟な類似薬選定
- **特許期間中の薬価が海外先進国と同様に原則として維持される仕組み**
 - ✓ 市場実勢価改定によらず、シンプルに薬価を維持
 - ✓ 再算定見直し

【喫緊の課題】

- **ドラッグラグ・ロスの解消**

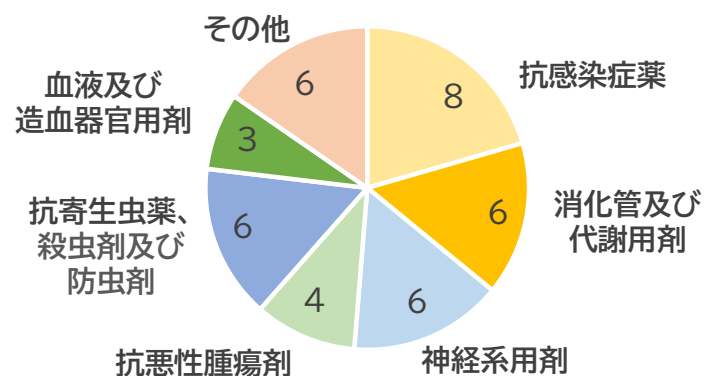
ドラッグロス品目の分析(日本における必要性)

- 前回の中医協意見陳述で報告したドラッグロス86品目※¹のうち、診断薬等11品目を除く75品目について分析した

ドラッグロス品目の分類

分類	全75品目	必要性・意義
日本で当該疾患の既存薬がない品目	39(52%)	日本で初めての治療薬となる
日本で当該疾患の当該作用機序薬がない品目	56(75%)	患者に新たな治療の選択肢を提供する
小児を対象とした品目	30(40%)	医療上特に必要とされる
希少疾病を対象とした品目	36(48%)	重篤な疾病を対象とするとともに、特に医療上の必要性が高い
欧米で薬事特例※ ² を受けた品目	46(61%)	各国が国策として官民一体となって取り組んでいる治療薬

- ✓ 「日本で当該疾患の既存薬がない品目(39品目)」は、広範な疾患領域に及ぶ※³



- ✓ ドラッグロス75品目には指定難病(4疾患6品目)や小児慢性特定疾病(6疾患9品目)が含まれている
- ✓ 患者会からの要望と品目の例

日本経済新聞 2023年5月31日(抜粋):

日本希少がん患者会ネットワーク(2022年9月)

- ・ 消化管間質腫瘍(GIST)の患者・家族らの会「GISTERS」の理事長・西舘澄人氏は「**米欧で発売されている新興バイオ企業の薬が日本に入っていない**」と嘆く。

品目例: AYVAKIT、QINLOCK

希少難病の治療薬開発に関する要望書(抜粋):

一般社団法人日本筋ジストロフィー協会(2023年6月)

- ・ 「ビルトラルセン」が承認され患者・家族は大きな希望を得た。しかし、この薬の治療対象はDMD全体の10%程度に過ぎず、**他の遺伝子変異に有効な新薬開発が待たれている**。※DMD:デュシェンヌ型筋ジストロフィー

品目例: EXONDYS 51、VYONDYS 53、EMFLAZA

※¹ 2023年7月5日 中医協薬価専門部会 薬-1 P34

※² 米) ファストトラック指定、ブレイクスルー指定、(欧) 迅速審査、PRIME指定 制度の詳細はAppendix P34参照

※³ ※「抗感染症薬」や「抗寄生虫薬等」など、日本では患者が少ないと想定される品目も一部含まれる

参考)各品目の概要はAppendix P35-44を参照

ドラッグロス品目の分析（まとめ）

- 限られた疾患領域で発生しているわけではなく、幅広い疾患領域で一様に発生している
- 当該疾患の既存薬がない品目が約半数存在している
- 小児や希少疾病を対象とした品目がそれぞれ4割強存在している

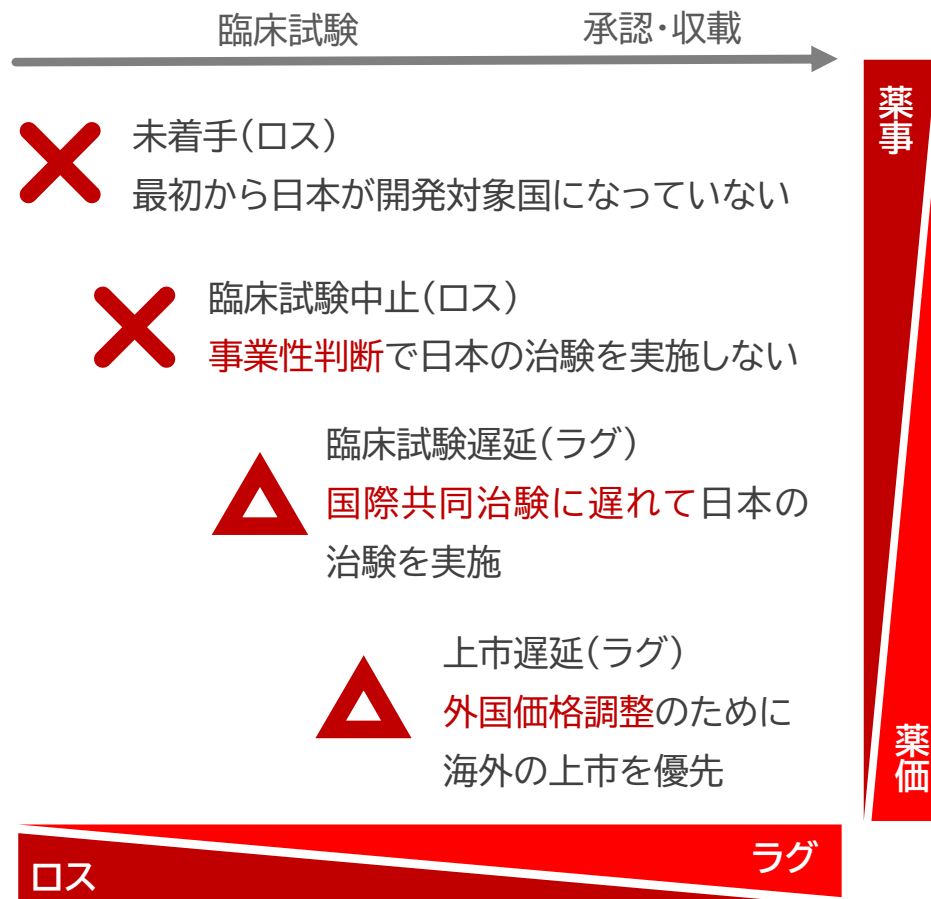


- ドラッグロスは幅広い疾患領域で発生しており、特定の疾患領域への個別解決策ではなく、**各領域に共通する課題を総合的に見直す必要がある**
- 当該疾患で初の治療薬となる品目、小児や希少疾病を対象とした品目も多く、患者会からの開発要望もあり、**可及的速やかに対応する必要がある**

ドラッグラグ・ロスの要因について

- 投資判断の各タイミングにおいて、**薬事**や**薬価**など様々な要素が複合的に関連して、ドラッグラグ・ロスが生じている

【投資判断の各タイミングでの要因】



【海外発ベンチャー企業5社への聞き取り調査】

※近年日本に拠点を設置した企業

薬事的な要因例

- 投資対効果が割に合わない
- 治験計画(症例数)立案のための疫学データが不足
- 日本導入の際のデータ追加取得に対応できない
- 医薬品開発支援企業が不足気味で奪い合いの状況
- 患者リクルート速度が遅い
- PMDAへの対応に手間がかかる

薬価的な要因例

- 薬価の想定が難しい、想定薬価の幅が広い
 - ✓ 算定方式が読みにくく、薬価制度が複雑
 - ✓ 上市後の薬価改定の想定が難しい
- 米国と比べ、薬価1/2、市場規模1/3
- 算定薬価が低いため、日本の優先順位低下
- 市場拡大再算定による大幅引下げのリスク

ドラッグラグ・ロスの薬価制度上の要因について

- 収載時の薬価算定、新薬創出等加算、市場拡大再算定それぞれにおいて問題点が認められた

【外資系企業への聞き取り調査】

PhRMA

薬価が開発判断に影響を与えた事例

PhRMA Japan 薬価委員会加盟12社のうち、8社において該当事例あり

収載時の薬価算定

主な製品事例：希少疾病、難病、新規作用機序

- 類似薬となる可能性のある既収載品の薬価水準が低く、原価計算方式の適用も不確実（ロス・5社）
- 想定される価格が欧米に比べて低く、外国価格調整を待つため等（ラグ・3社）

新薬創出等加算

主な製品事例：患者数の少ない疾患

- 2018年の品目要件変更により新薬創出等加算の品目要件への該当性が不確実（ロス・2社、ラグ・2社）

再算定

主な製品事例：抗がん剤

- 市場拡大再算定に該当の可能性（ロス・1社、ラグ・1社）

日本の優先度

主な製品事例：難病

- 日本価格の外国価格への影響を回避（ラグ・2社）
- 導入元の海外ベンチャー企業が、日本の市場性を含めた理由から欧米での開発を優先（ラグ・2社）

EFPIA

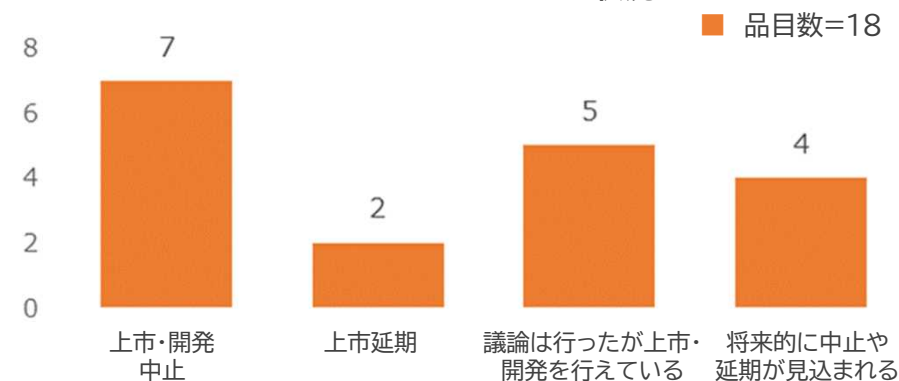
ドラッグラグ・ロス事例

EFPIA Japan薬価経済委員会参加企業17社に対して調査を依頼し、13社より回答

【上市延期・中止、または議論等を行った主な理由】

- 日本の想定薬価が他国に比べ低く、他国への影響を懸念したため
- 製造、開発コストに対する想定薬価が低かったため
- 市場拡大再算定のリスクを回避するため（効能追加に関して）
- 小児開発に対する薬価上のメリットが小さいため

ドラッグラグ・ロスの状況



ドラッグラグ・ロスの要因分析（まとめ）

- 現在の日本の薬価制度では、品目単独の事業性が成り立たずドラッグロスに至る
- 他国に比べ日本の薬価が低いことから、相対的投資順位が下がりドラッグラグ・ロスに至る
- 収載時の薬価を想定することが困難
（算定方式が想定しづらい、想定薬価の幅が広い）
- 上市後の薬価の予見性が低い
（上市後の薬価改定の想定が困難、市場拡大再算定のリスクが大きい）



【課題解決の方向性】

- 薬価が想定しやすく分かりやすい制度にすること
 - 欧米と比べて遜色ない薬価が期待できること
 - 上市後の薬価が予見でき、薬価引下げのリスクが低いこと
- ⇒ **以上を複合的に実現し、日本で事業性が見通せる薬価制度にする必要がある**

ドラッグラグ・ロスを解消するための薬価制度改革

【2024年度薬価制度改革】

喫緊の課題である以下4点の制度見直しが必要である

- 薬価収載時

- ① 革新的新薬を迅速に導入するための薬価算定
- ② 有用性加算などの評価を拡充

- 薬価収載後

- ③ 新薬創出等加算の見直し
- ④ 市場拡大再算定の見直し

【更なる抜本的な制度改革】

- 2024年度以降においては、関係者との十分な議論を行い、新たな価値評価の仕組みや薬価改定のあり方について、検討する必要がある

① 革新的新薬を迅速に導入するための薬価算定

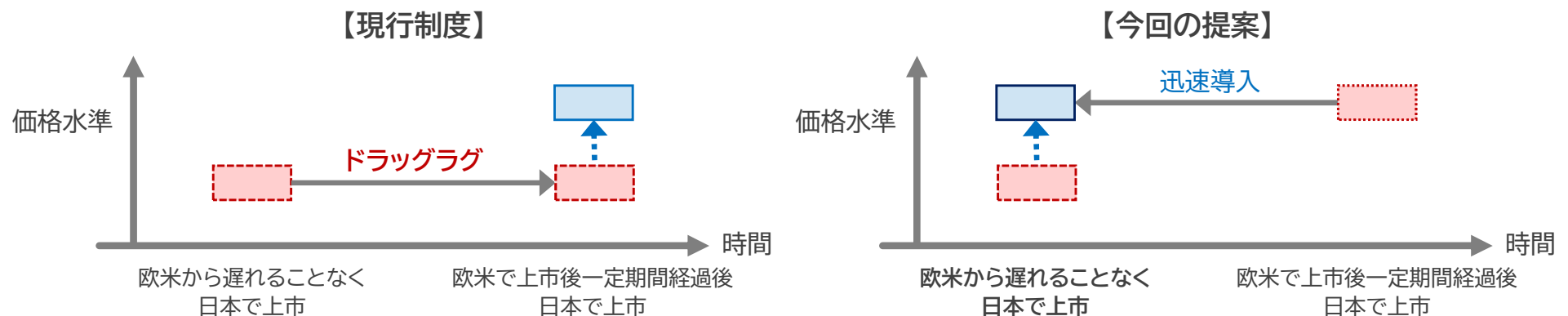
ドラッグラグ・ロスに係る問題点

- 「日本の価格水準が低い場合には他国の価格決定にマイナス影響を及ぼすこと」「外国平均価格調整(引上げ)のために上市を遅らせること」などの薬価面の理由から、ドラッグラグが生じている
- 先駆加算は、適用要件が厳しくインセンティブとして十分に機能していない
- ファーストインクラスの新薬が十分に評価しづらい

意見

- 迅速な導入を促すために、**収載時に欧米並みの価格設定ができる仕組み**を導入すべきである

※医療上特に必要とされる品目を対象とする



【具体的な価格設定の方法(案)】 詳細はAppendix P33参照

- ✓ 先駆加算に準じた補正加算の新設
- ✓ 海外で想定される価値評価を踏まえた価格調整

② 有用性加算などの評価を拡充

ドラッグラグ・ロスに係る問題点

- 現状の有用性系加算体系では、実薬比較臨床試験が困難※な領域での新薬や新たなモダリティなど従来と異なる概念の新薬、早期に日本に上市される新薬の評価が困難である
- 審査報告書以外の薬事承認に関わらないデータ等は、加算の評価に十分に考慮されていない

※比較対照となる薬剤が存在しないこと、患者数が少ないまたは疾患の特性により統計的に有効性を示すことが難しいこと

意見

【加算で評価すべき要素】

- 収載時点ではガイドライン等への記載が無くても、薬価収載後には本邦で標準的治療法となることが明らかであると見込まれる場合には加算を適用すべきである
- 現行の加算要件では評価がされにくい患者・家族の社会生活上の有用性については、治験の評価項目として有用性が検証されている場合には、加算として評価可能とするべきである
- 長期間新薬が上市されていない領域や開発リスクが高い領域の品目について、そのような領域の開発をより促進する観点から、評価する必要がある

【加算評価の際に活用すべきエビデンス】

- 希少疾病用医薬品など、実薬との直接比較試験の実施が困難な領域では、適切な統計学的処理がなされた間接比較データも加算根拠として受け入れ可能とするべきである
- 評価の根拠とするデータについて、審査報告書だけでなく範囲の拡充について検討すべきである

③ 新薬創出等加算の見直し

ドラッグラグ・ロスに係る問題点

- 現行の品目要件では、医療上の必要性が高い医薬品が必ずしも新薬創出等加算の対象とならないことがあり、ドラッグラグ・ロスが多く生じている小児用医薬品なども対象となっていない
- 現行の企業指標による評価は企業規模の影響を強く受けるため、小規模企業、希少疾病等の専門分野に特化した企業、日本での事業展開の歴史が浅い外国企業などにとっては、新薬の薬価が維持できない。それが日本で上市する魅力をなくしている

意見

【品目要件】

- 小児用医薬品などの医療上必要性の高い医薬品、およびドラッグラグ・ロス解消に資する日本で早期上市した品目については、現行の品目要件に追加すべきである

【企業指標・企業区分】

- 企業指標・企業区分については撤廃し、薬価を維持すべきである

【現行の品目要件】

- ① 有用性系加算適用品目
- 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
- ⑤ 新規作用機序医薬品から3年以内・3番手以内
- 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

追加

- 小児用医薬品などの医療上必要性の高い医薬品
- 日本で早期上市した医薬品

【企業要件に係る指標】

- 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)
- A-2) 新薬収載実績(収載成分数)(過去5年)
- A-3) 革新的新薬の収載実績(過去5年)
- A-4) 薬剤耐性菌の治療薬の収載実績(過去5年)
- 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)
- B-1) 開発公募品(開発着手数)(過去5年)(B-2分を除く)
- B-2) 開発公募品(承認取得数)(過去5年)
- C-1) 世界に先駆けた新薬の開発(品目数)(過去5年)
- 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)

④ 市場拡大再算定の見直し

ドラッグラグ・ロスに係る問題点

- 他社製品の売上拡大を理由とした薬価引下げ(「共連れルール」)は、**事業の予見性を低下**させている
- 薬理作用類似薬であっても、効能効果の重なり的大小があり**競合性の判断が難しい**こと、また、薬価改定により一日薬価に価格差が生じていることから、**一律に価格を引き下げる必要性が乏しい**
- **効能追加は医療従事者や患者の治療の選択肢を増やし医療の質の向上に貢献するものであり、効能追加を行ったことで再算定の適用を招くことは、企業の日本における開発意欲を削ぎ、患者アクセスを阻害する要因**になる

中医協での指摘に対して

- 類似品の取扱いについて、**前回改定で導入された除外ルール**は、短期間に繰り返し再算定の適用を受けることを防ぐ効果はあるが、**共連れルールの根本的な問題を解決するには至っていない**
 - ✓ 効能効果の重なりが小さい場合や、「対象品」よりも薬価が低い場合にも薬価の引下げを受ける等、共連れルールの**合理性・予見性に係る課題**が残る
 - ✓ 前回改定で導入された除外ルールの対象は、**特例再算定適用品に限定**されており該当品目が極めて少ない

意見

【「共連れルール」】

- 薬理作用類似薬すべてを「類似品」として連座的に薬価を引き下げる「**共連れルール**」は、**予見性と合理性の観点から廃止**すべきである

【効能追加の評価】

- **有用性の高い効能を追加した品目**※については、**再算定引下げ率の緩和の形で評価**すべきである

※例えば、新薬収載時であれば有用性系等加算の対象になるような品目など

市場拡大再算定／類似薬効比較方式で算定された品目の取扱いについて

薬価算定組織からの意見

- 令和5年8月23日の薬価専門部会において、「類似薬効比較方式で算定された品目についても、原価計算方式で算定された品目と同様に取り扱うこと」が指摘されている

意見

【市場拡大再算定の原則について】

- 類似薬効比較方式で算定された製品への再算定は、「**価格設定の前提条件である使用方法、適用対象患者の範囲等が変化し、収載時に選定された比較対照薬との類似性が損なわれ、市場規模が大幅に拡大した場合**」に**薬価を補正する趣旨**で導入されたものである(平成7年11月10日 中医協建議)
- 収載時の前提条件が変化していないにもかかわらず、市場規模が拡大したという理由のみで薬価を引き下げるとは、**単に市場で評価された医薬品の価値を下げる**ものであり、また**イノベーションの推進**という考え方に著しく反するものであり、到底許容できない

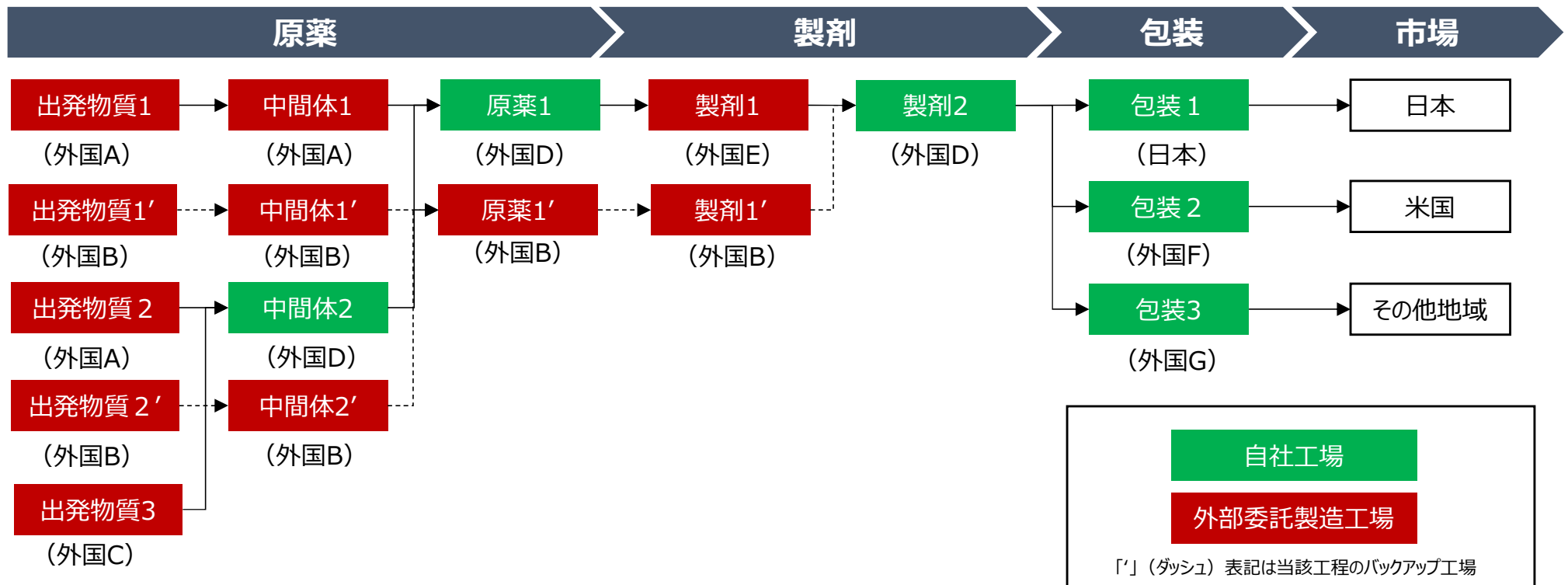
【ドラッグラグ・ロスの観点から】

- 市場拡大再算定をさらに厳しくすることは、革新的新薬の日本での上市を躊躇させ、患者さんに負の影響をもたらす**ドラッグラグ・ロスを更に助長**することになる。さらに、これまでの**ドラッグラグ・ロス**解消に係る関係者の一連の取組みを無にするものであり、断じて受け入れられない

原価の開示が難しい企業側の事情

- 輸入医薬品のサプライチェーンは複雑で、原薬製造、製剤化、包装の各工程が複数国にまたがり、自社工場のみならず多くの外部委託先を経て、製品化されている
- 委託先を利用した場合でも、原材料費、人件費、設備償却費、エネルギー代(電気、水道など)等の内訳を示さなければ原価を開示したとは認められないが、外国の委託企業にこれら全ての経費について根拠となる情報を開示させることは極めて困難である

某米国企業の某錠剤サプライチェーン



後発医薬品・安定確保医薬品等の製造原価

- ・ 原価高騰の影響は改善されておらず、厳しい状況が続いています。
- ・ 製造原価が薬価の80%を超える品目については、販売管理費・卸への費用・消費税等を含めると赤字になります。

後発医薬品	薬価基準収載 品目数**		令和4年10月の薬価に対する原価率*							
			60%以下の 品目数		60%を超えている 品目数		70%を超えている 品目数		80%を超えている 品目数	
	R4年10月	R5年8月	R4年10月	R5年8月	R4年10月	R5年8月	R4年10月	R5年8月	R4年10月	R5年8月
①品目数	4,879	4,158	2,347	1,930	2,532	2,228	1,968	1,796	1,431	1,354
			48.1%	46.4%	51.9%	53.6%	40.3%	43.2%	29.3%	32.6%
①のうち、 安定確保 医薬品A	61	50	23	16	38	34	31	23	23	16
			37.7%	32.0%	62.3%	68.0%	50.8%	46.0%	37.7%	32.0%
①のうち、 安定確保 医薬品B	14	14	4	4	10	10	8	8	8	8
			28.6%	28.6%	71.4%	71.4%	57.1%	57.1%	57.1%	57.1%
①のうち、 安定確保 医薬品C	1,580	1,338	782	667	798	671	648	539	497	427
			49.5%	49.9%	50.5%	50.1%	41.0%	40.3%	31.5%	31.9%
基礎的 医薬品	165	161	87	79	78	82	52	56	33	33
			52.7%	49.1%	47.3%	50.9%	31.5%	34.8%	20.0%	20.5%

* 薬価が下がったことによる原価率上昇の影響を排除するため

** 後発医薬品として承認された医薬品で薬価基準に収載（経過措置は除く）されている品目数

日本ジェネリック製薬協会調べ

※ 令和4年10月回答30社のうち24社の状況、4社がJGAを退会、2社が未回答（令和5年8月4日時点）

※ 製造原価率60%を超えている品目には、70%・80%を超えている品目を含む

※ 製造原価率70%を超えている品目には、80%を超えている品目を含む

既収載品における薬価改定の現状と課題

現状

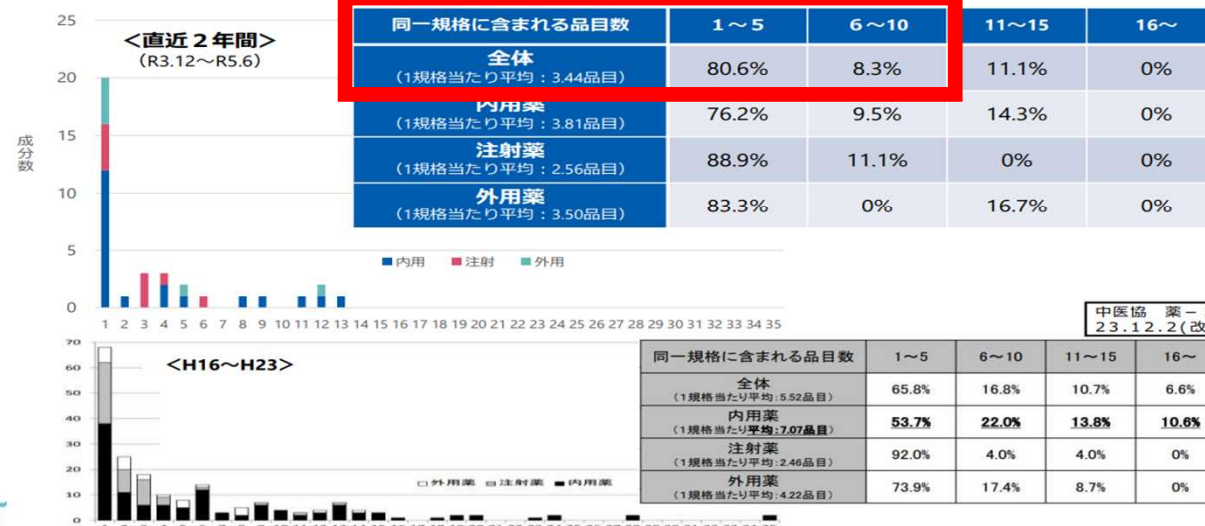
- 価格帯ルールは、市場実勢価を加重平均することによって算出した上で価格帯集約によって薬価が決めるため、適正な価格で販売している品目が乖離率の大きい品目の影響を受けてしまう制度となっています。

課題

- 収載品目数が限られた成分においても、価格帯ルールによって薬価が集約され、乖離率の小さい品目と乖離率大きい品目が同一の薬価となり、適正な市場実勢価が反映されていないため、薬価の予見性が損なわれています。
- 将来にわたって品質確保・安定供給のための継続的な生産・設備投資を行う企業にとって、収益確保の見通しが立てづらい状況と考えます。

最近の新規後発品収載実績（直近2年間）

- ・ 最近、価格帯集約を始めた平成24年当時と比べ、新規後発品の収載品目数は減少している。



既収載品の個別銘柄の薬価制度の提案

- 安定供給確保と品質確保に向けた適正な活動を行う企業の品目で、医療上必要性の高い医薬品等については、個別銘柄改定の対象とすることを検討いただきたい。
※個別銘柄改定とならない品目は、従来の価格帯ルールを適用

【参考】既収載品の個別銘柄の対象品目、企業要件

➤ 対象品目

①、②のいずれかに該当する品目

①医療上の必要性の高い医薬品

②収載10年未満かつ、GE内シェア率50%以上の品目
(徐々に対象品目の拡大を図る)

➤ 企業要件

- ・製造管理や品質管理に関する情報(例えば製造所、原薬の複数ソース化等)を開示している。
- ・品目毎に「平時の供給量と最大可能製造量」を届け出る。
(なお、承認予定社数に応じて下限数量を設定)

※現在進められている後発品産業のあり方に関する検討会の議論も踏まえ、検討していく必要があると考えます。

後発品への置換えが進まない長期収載品について

- 後発品への置換えが進まない長期収載品について、有識者検討会において提示された多面的な分析は、置換えが進まない実態を的確に捉えており、我々も同様の認識です。
- 精神系の薬剤などでは医療上の必要性の観点から、後発品へ変更することが困難な事例があると認識しています。また、薬価収載から長期間が経ち、長期収載品の薬価も低く、その薬価の差も少ないような成分では置換えが進みにくいと考えています。

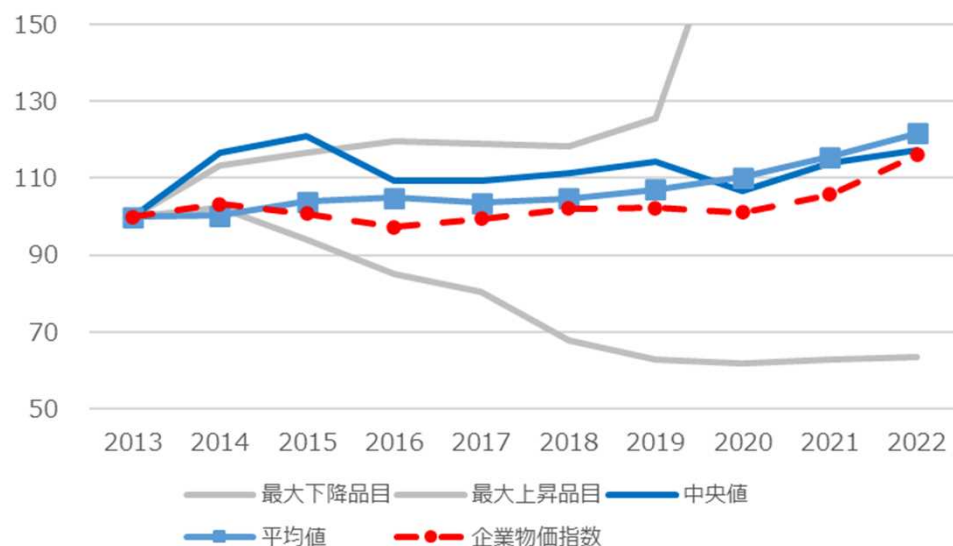
要因仮説	概要
A 製造方法や原料の特殊性等により、後発品が存在していない	例えば、輸液・生物由来製品（血液製剤）といった特殊な原料等を使用した製剤など、製造方法や原料の特殊性により、製造コストが高くなること等から後発企業の経営判断として製造（上市）が回避された結果、後発品が存在していないもの。
B 医療上の必要性により長期収載品と後発品の使用が区別されている	例えば、抗てんかん剤が治療ガイドラインにおいて「後発医薬品への切り替えに関して、発作が抑制されている患者では、服用中の薬剤を切り替えないことを推奨する」とされているように、<u>医療上の必要性により長期収載品と後発品の使用が区別されていると推察されるもの。</u>
C 使用感等の付加価値により患者が長期収載品の使用を選択している	例えば、外用剤（貼付剤・点眼剤）など、長期収載品と後発品とで治療効果の発現に差はないが、使用感（使い心地）等の付加価値により<u>患者が長期収載品の使用を選択していると推察されるもの。</u>

物価高騰等の状況について

【調査方法等】

- ◆ 長期の製造原価推移及び原価率について分析を行うことを目的に、以下の医療上の必要性が高い品目の製造原価及び薬価推移について、日薬連保険薬価研究委員会会員に対し調査を行った。
ただし、各社の秘匿情報となることから、厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課の協力の下で集計を行った。
① 安定確保医薬品AまたはBに該当する医薬品（後発品がないあるいは薬価収載から15年未満の新薬は除く）
② 令和4年度薬価改定において不採算品再算定が適用された品目
- ◆ 国内製造かつ2013年から2022年の10年間の製造原価及び薬価が確認可能な62品目について集計を行った。

製品製造原価水準の変化（2013年基準） n=62

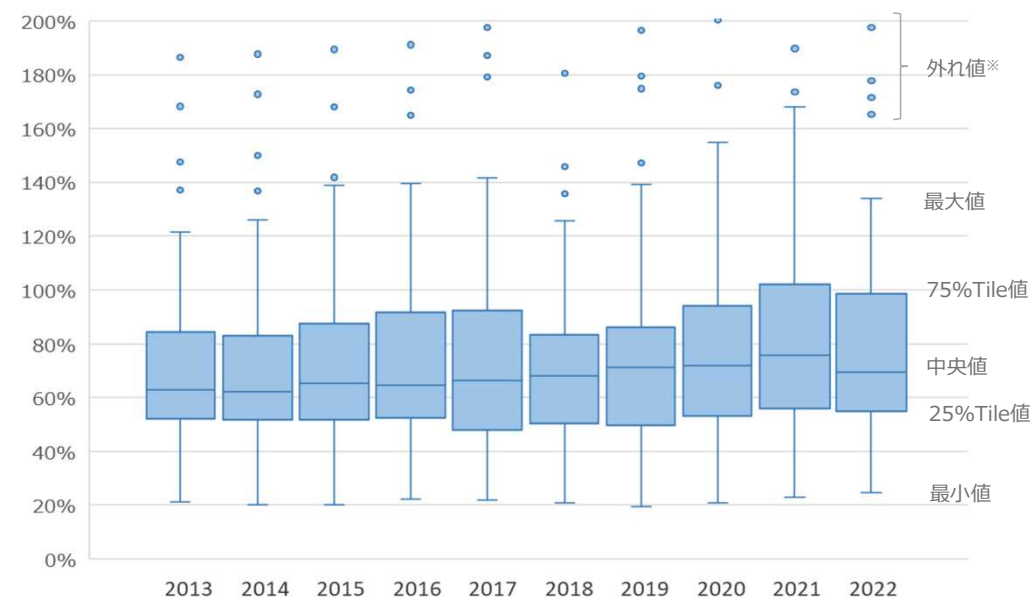


※個別品目ごとに年平均成長率を算出し、中央値となった品目、最大上昇／最大下降品目の原価水準の変化を表示している。

- 10年間の製造原価水準の変化について、企業物価指数※と同様に推移していることが確認できた。
- 特に2020年度以降の世界的な物価上昇と同様に上昇していることが確認できた。

※企業物価指数：日本銀行が公表する企業間で売買されるモノの価格変動を示す指標

製品製造原価率の推移 n=62



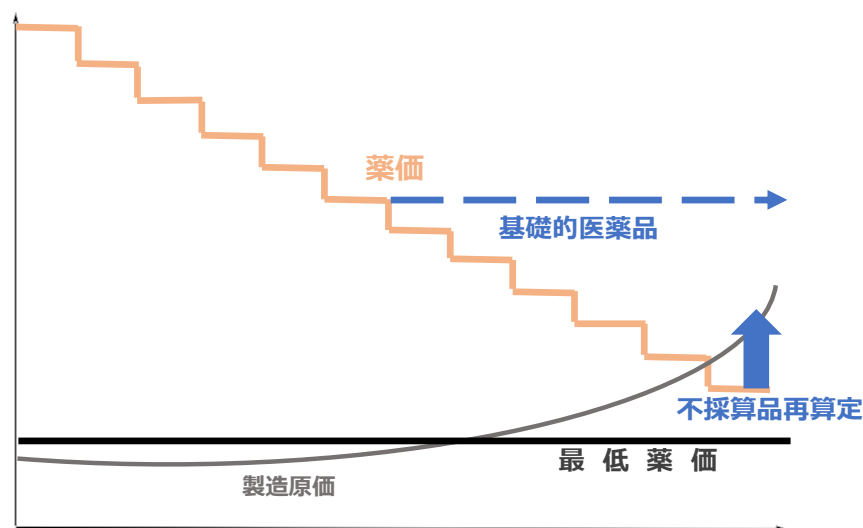
※外れ値は75%Tile値の1.5倍を超える値

- 原価率は、製品特性や製造環境等によりバラツキが大きいですが、その中央値は60～70%であり、200%を超える品目も確認された。

・個別品目ごとにバラツキはあるが、薬価に対する製造原価率が70%程度となれば、販管費、消費税、卸の利益分を勘案し採算が厳しい状況となる。
2022年度不採算品再算定適用品目が調査対象ため、当該年度の原価率は低下している。

医療上の必要性が高い医薬品の安定確保を後押しする仕組みについて

〈薬価と製造原価の推移イメージ〉



〈薬価を下支えするルール〉

	ルールの位置づけ等
基礎的医薬品	- 医療上の必要性が高い医薬品について<u>不採算品再算定や最低薬価になる前に薬価を下支え</u>する仕組み 「過去に不採算品再算定適用」「病原生物」「麻薬」「安定確保医薬品A」など、<u>対象品目の範囲は限定的</u>
不採算品再算定	- 医療上の必要性が高い医薬品について、不採算となっている場合に<u>薬価を引き上げる</u>仕組み <u>不採算以外の要件を満たすのみに適用</u>
最低薬価	剤形毎に設定されており、<u>最低限の供給コストを確保</u>するための仕組み

【2022年度薬価改定時（収載品目数:13,370品目）】

基礎的医薬品 : 1,073品目 (8.0%)
不採算品再算定 : 440品目 (3.3%)

- 今後も物価高騰等の影響を受ける可能性が高いことを踏まえれば、改定によって必然的に薬価が低下する薬価制度における現状の下支えルールでは、医療上の必要性が高い医薬品の安定確保を後押しするには十分とは言えないと認識

- 将来にわたり医療上の必要性が高い医薬品の安定確保を後押しするために、急激な物価上昇等に対応し得る薬価制度について、薬価改定のあり方も含め検討を行うべきである。
- 次期薬価改定においては、医療上の必要性が高い医薬品の薬価を下支えするルールの充実化を図ったうえで、薬価上の手当てが必要な品目への対応をお願いしたい。
- 併せて、古くから薬価収載されている品目について、その医療上の必要性を判断する仕組みが必要であり、まずは安定確保医薬品の精査が必要である。

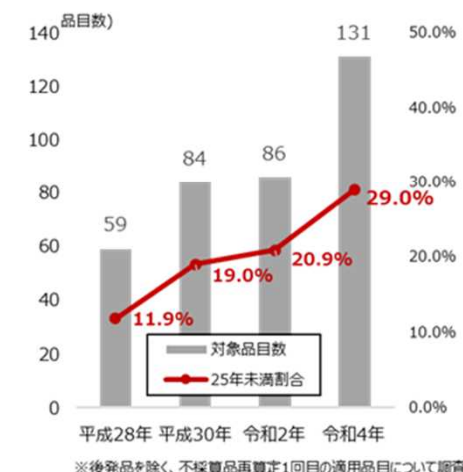
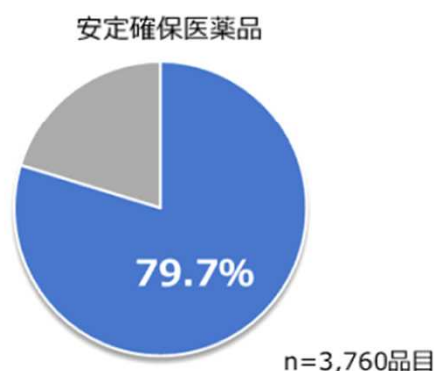
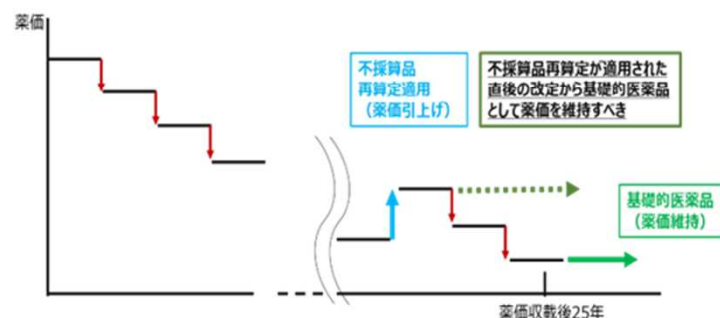
基礎的医薬品の対象範囲の拡充について

- 医療上の必要性が高い医薬品が不採算に至る前に薬価を下支えするという趣旨を踏まえ、基礎的医薬品については対象となる範囲の拡充を行うべきである。

○不採算品再算定が適用されても収載後25年経過しなければ薬価が維持されない

○安定確保医薬品であっても薬価が引き下がる品目が約8割存在している
○安定確保医薬品のうち基礎的医薬品が適用されている品目は1割未満である。

○基礎的医薬品の要件である収載後25年未満で不採算品再算定を受けている品目の割合は増加



要望事項

- ✓ 基礎的医薬品の対象となる品目の拡充や薬価収載からの年数の短縮化
- ✓ 不採算品再算定が適用された品目や基礎的医薬品の薬理作用類似薬として収載される品目については、収載後25年の要件に関わらず、直後の改定から基礎的医薬品として薬価を維持する。

不採算品再算定の柔軟な適用について

- 不採算品再算定は、医療上の必要性、代替性、採算性等を品目毎に確認し、薬価を引き上げる仕組みであり、その手当てが必要な品目に確実に適用されることが望まれる。
- 医療上の必要性が高い医薬品の継続的な供給が可能な企業が求められている現状も踏まえつつ、類似薬要件※の見直しが必要である。

〈類似薬要件の位置づけとその課題〉

- 類似薬要件は、企業の原価低減努力を阻害しないことや公平性の観点から2000年に薬価算定の基準が明文化された際に設けられたと推察される。
- 一方で、安定供給や品質確保のための体制を確保し、必要性の高い品目を将来にわたり供給していく企業が、不採算品再算定を希望した場合であっても、当該品目を持つ他の全ての企業の希望がなければ適用されない。
- 医療上の必要性が高い医薬品の安定確保を後押しするためにも、類似薬要件の見直しが必要である。

※類似薬要件

当該既収載品と組成、剤形区分及び規格が同一である類似薬がある場合には、全ての類似薬について該当する場合に限る。

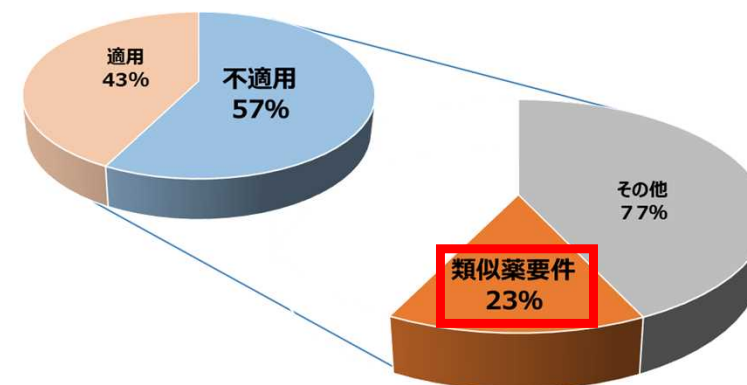
【後発品の場合】

当該既収載品と組成、剤形区分及び規格が同一である類似薬（新規後発品として薬価収載されたものに限る。）がある場合には、当該全ての類似薬について該当する場合に限る。

薬価算定の基準についてより抜粋

〈不採算品再算定の希望と適用状況〉

- 不採算品再算定適用希望品目（381品目）のうち、57%が当該再算定が不適用であり、そのうち約1／4が「類似薬要件」にて不適用とされていると推察された。



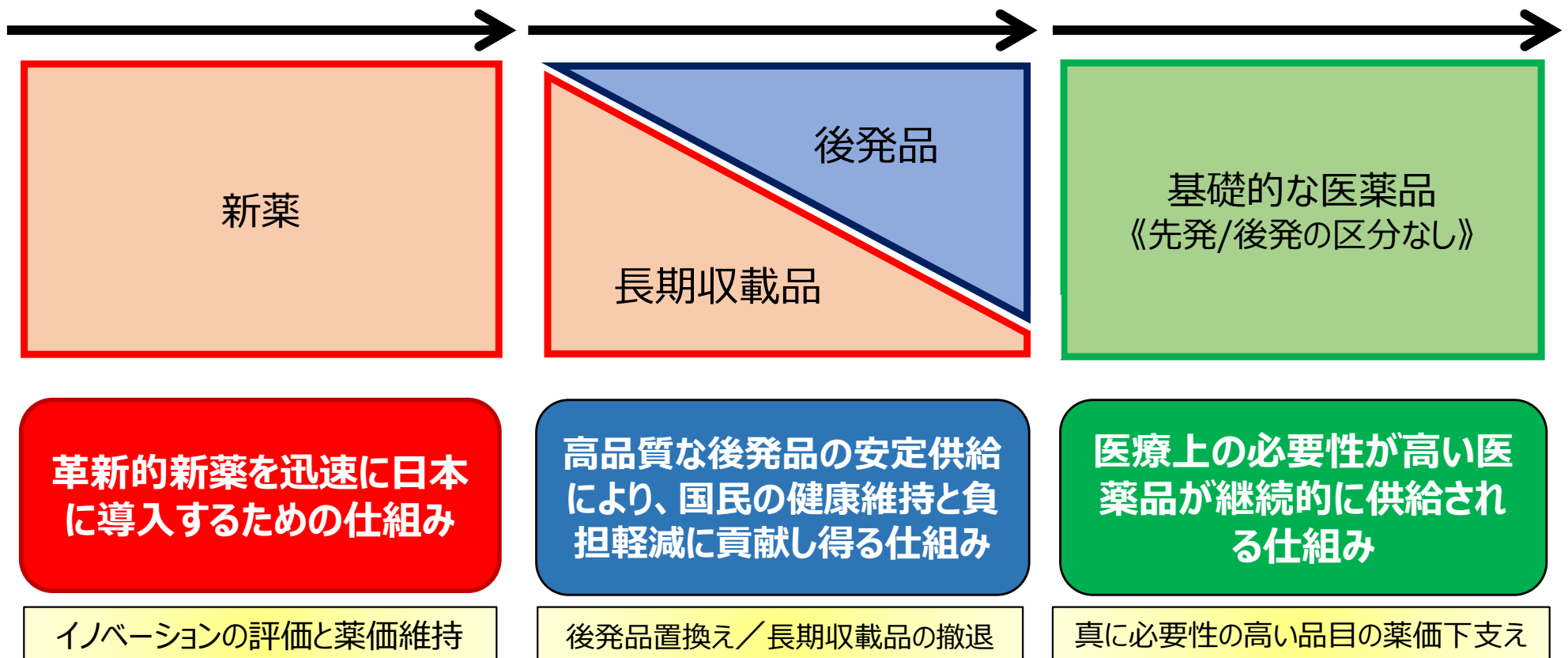
日薬連保険薬価研究委員会にて常任運営委員会29社に対し実施した、平成30年度、令和2年度、4年度の不採算品再算定希望品目等に関するアンケート調査より

要望事項

- ✓ 安定供給や品質確保のための体制等を確認した上で、不採算品再算定を希望する銘柄のシェアが一定以上であれば適用することをルールに追加する。
- ✓ G1品目に係る後発品については、増産対応を行う企業のみでの不採算品再算定の適用を可能とする。

医薬品のカテゴリーに応じた薬価制度の構築

- 次期薬価制度改革以降の議論においては、医薬品のカテゴリーに応じた薬価制度の構築に向け、薬価改定のあり方を含め検討を進める必要がある。
- 革新性や新規性といった新薬の価値を適切に評価する仕組みや薬価収載後一定期間が経過した医薬品の医療上の必要性を評価する仕組みについても検討を進めるべきである。



長期収載品の撤退ルールの見直しについて

- G1品目の撤退ルールについては、足元の供給問題にも配慮しつつ、長期収載品は撤退を基本とし、後発品がその成分の継続的な供給を行うというルールに見直すべきである。
- なお、長期収載品の検討にあたっては、特許期間中の新薬の薬価維持や医療上必要な医薬品の薬価を下支えする仕組みと併せて検討する必要がある。

◆G1品目の数と薬価削除された長期収載品の数

令和4年度改定時 G1適用品目数	109成分267品目
これまでにG1撤退スキームに 則り薬価削除した品目数	2成分4品目

◆後発品が増産対応を希望しない理由

- ✓ **薬価が相当程度下がっている**中で、増産対応を行う企業とそれ以外の企業の品目で薬価を分けるだけでは**メリットがない**。
- ✓ 古い薬剤であることから、物量自体も減少しており、**将来の採算性に見通しが立たない**。
- ✓ 増産対応を希望することで、**当該品目に対する供給義務がより一層課される**怖れがある。

◆ルール見直し案

		現行ルール	見直し案
長期収載品	撤退	<u>撤退する場合に申請G1撤退スキーム</u> にて薬価削除	<u>撤退しない場合に申請通常の薬価削除手続き</u> に則る
	薬価	G1品目適用後6年後に後発品と同一価格	撤退を希望しない品目については6年後に <u>後発品と同一価格</u> 後発品企業や学会等からの要望により <u>薬価削除が困難</u> な場合は、G2品目と同様に <u>後発品の薬価の1.5倍</u>
後発品	薬価	増産対応を行う企業とそれ以外の企業の品目で薬価を分ける	左記に加え、 ・ <u>増産対応品目は一定条件の下で薬価を維持</u> ・ <u>増産対応を行う企業のみでの不採算品再算定を実施</u>

※足元の供給問題に配慮しつつ、別途進められている後発産業構造のあり方の議論を踏まえながら具体的な制度設計を行うべき

最低薬価の新設等について

- 最低薬価がまだ設定されていない剤形もあることから、最低薬価の新たな区分の設定が必要である。また、現在の最低薬価の水準では安定的な供給ができない区分については設定価格の見直しを行うべきである。

新設等を希望する剤形の原価率の推移

		2014年	2016年	2018年	2020年	2022年	要望
エキス剤 (漢方製剤)	加重平均値	105.3%	126.0%	125.3%	135.2%	158.3%	最低薬価の新設
外用塗布剤	ばらつき	59~87%	62~89%	64~143%	71~164%	64~175%	
	中央値	73%	81%	114%	111%	107%	
点眼点耳点鼻液 (眼耳鼻科用液等)	ばらつき	113.3~162.7%	97.0~150.5%	73.0~170.9%	91.2~190.7%	103.1~220.5%	点眼剤の最低薬価 への組み入れ
	中央値	138.0%	143.5%	139.4%	144.2%	167.1%	

※エキス剤（漢方製剤）：日本漢方生薬製剤協会加盟企業における不採算21品目のデータ

※外用塗布剤：18品目のデータ（そのうち5品目は不採算品再算定の適用を受けたもの）

※点眼点耳点鼻液（眼耳鼻科用液等）：今年度に不採算品再算定の手続きを進めている3品目のデータ（2014年のデータのみ2品目）

見直しを希望する剤形の最低薬価に対する原価率の推移

		2014年	2016年	2018年	2020年	2022年	最低薬価 (日局/局外)
生理食塩液100mL	加重平均値	110.2%	114.1%	115.5%	114.2%	116.4%	115円/70円
生理食塩液500mL		123.4%	131.5%	129.9%	130.8%	138.8%	152円/93円

※原価は各年度の原価/当時の最低薬価（日局）の値で算定

※生食500mLは瓶と袋の2規格を製造販売する場合の原価は瓶と袋の加重平均値、本数は瓶と袋の合算で算定

※上位4社のうち、2016年と2020年は2社、それ以外の改定年は全4社の原価の加重平均値

薬価算定組織の意見に対する見解①

イノベーションの評価

新薬創出等加算における品目要件の合理化

- 新薬創出等加算の品目要件における、「有用性加算等に該当した薬理作用類似薬1番手から3年、3番手以内に収載された品目」については、当該品目は1番手と同時期に開発が開始され、有用性と革新性の程度のみならず、開発リスクも同程度であると考えられることから設定されたものと認識している。
- 今般の提案については、上記のようなルールの趣旨も踏まえつつ慎重に検討されるべきと考える。

改定時加算の取扱い

- 追加された効能ごとに加算の該当性を判断し、併算定を認めることや、新薬創出等加算又は再算定適用時における薬価改定時の加算の適用方法を見直すことには賛同する。

標準的治療法の定義

- 薬価収載前には国内に使用実態がないながらも、臨床試験の結果から薬価収載後には本邦で標準的治療法となることが明らかであると見込まれる場合等は、有用性加算の評価の対象として取り扱うことに賛同する。

薬価算定組織の意見に対する見解②

薬価算定の妥当性・透明性の向上

原価計算方式における開示度向上

- 企業は薬価算定組織に対し可能な限り原価情報を開示しているものの、昨今の新薬の開発やサプライチェーンは複雑化しており、複数国にまたがる全ての経費根拠を提出することは極めて困難である。
- そのような背景を踏まえ、移転価格として日本に導入することがやむを得ない品目の薬価算定のあり方について議論を行うべきである。なお、柔軟な類似薬選定については賛同する。

比較薬におけるG1品目及びG2品目の取扱い

- G1／G2品目は後発品が収載されてから長期間経過しており、後発品の薬価を基準に算定することから、新薬の比較薬として用いられるものではない。そもそもG1品目は撤退することが基本と認識している。
- 新医療用配合剤の配合成分など、G1/G2品目を比較薬として用いることがやむを得ないと考えられる場合に限り特例的に選択できるようにすることについては一定程度理解できる。

類似薬効比較方式（Ⅰ）における薬価の適正化

- 早期に日本で上市した品目について欧米並みの価格設定ができる仕組みが必要であり、比較薬の選定をこれまでより柔軟に行うことには賛同する。
- この場合、比較薬と新薬の臨床上の位置づけに違いが生じることが想定され、補正加算に対する減算ではなく、算定薬価を一定の範囲で引上げ／引下げの調整する仕組みの必要性は理解できる。
- 本件については、個々の品目の評価を適切に実施する観点も踏まえ、慎重に検討を進めていくべきである。

剤形追加等の取り扱い

- 基本的な考え方として、剤形追加等も含め個々の医薬品の有用性を適切に評価すべきであり、追加剤形であっても医療上の有用性等により品目要件を満たす医薬品には新薬創出等加算を適用すべきと考える。

薬価算定組織の意見に対する見解③

状況の変化に応じた薬価の適正化

市場拡大再算定の取扱いの見直し（再算定類似品、対象品、補正加算）

- 市場拡大再算定に係る過去の議論は以下のとおりである。
 - ✓ 再算定は、昭和57年の「新医薬品の薬価算定に関する懇談会報告」において、「薬価基準収載後、効能・効果、用法・用量等を拡大した場合には必要に応じ価格の見直しを行う」とされた。
 - ✓ 平成7年の中医協建議においては、原価計算により収載されたものについて、薬価算定の前提条件に患者数が勘案されていることから「収載時に算定の基準とした予想販売量を、大幅に超えて販売された場合」を再算定の対象とされた。一方、類似薬効比較方式により収載されたものについては、「価格設定の前提条件である使用方法、適用対象患者の範囲等」が変化し、収載時に選定された比較対照薬との類似性が損なわれ、市場規模が大幅に拡大した場合」に再算定の対象とすることが明記された。
 - ✓ 本建議に記された再算定の骨格が平成12年度の薬価算定基準の明文化の際に反映され、現在に至っている。
- このように過去からの議論の経緯に照らしても、市場拡大再算定は、薬価収載後に収載時の前提条件に変化があった場合にのみ薬価を見直すことが原則であると理解している。
- 薬価算定組織からの提案は上記原則を根底から覆す内容であり、単に売れたら薬価を引き下げるというルールは到底受け入れられない。柔軟な類似薬選定により一定程度原価計算方式による算定が減少したとしても、再算定の原則を見直す必要性は乏しいと考える。
- 主たる効能の変化に対しては効能変化再算定が適用される。当該再算定には薬価の引下げ率の下限はなく、その対象は原則として類似薬効比較方式にて算定された品目であることを踏まえれば、市場拡大再算定における最大薬価引下げ率を原価計算方式にて算定された品目に合わせる必要性は乏しいと考える。
- いわゆる「共連れルール」については、廃止に向けた検討を進めるべきであり、少なくとも「競合している効能効果の重なりが小さい場合」「過去の再算定の影響により対象品よりも既に一日薬価が低い場合」「短期間に繰り返し適用となる場合」等は対象から除外すべきと考える。
- 有用な効能追加を促進する観点から、薬価収載時に有用性系加算に該当すると認められる効能が追加された場合は市場拡大再算定における補正加算の対象とすることには賛同する。

薬価算定組織の意見に対する見解④

その他

新薬が長期間収載されていない領域において開発された新薬の評価

- 医療の質のさらなる向上に繋がる観点からも、長期間、新薬が上市されていない領域のみならず、開発難易度が高い領域、医療ニーズが極めて高い領域における新薬について、開発したこと自体を評価することを検討いただきたい。

有用性系加算の定量的評価

- 有用性の評価について、新たな評価の観点の追加や定量的な評価方法の改善など、評価のあり方について見直しを行うことには賛同する。近年の革新的新薬が有する価値を適切に評価できるように十分な議論をお願いしたい。

新たな評価を行う上での留意点

- 薬事承認から収載までの期間を遅延することなく、適切な価値評価を行うための検討については賛同する。また、収載時に十分な評価が困難なものについては収載後に考慮することについても賛同する。

開発段階からの薬価相談

- 開発の段階から薬価算定に関する相談を受けることのできる枠組みについて、有用な新薬を日本に迅速に上市することを促す仕組みとして検討をすることについては賛同する。

その他の意見

薬価改定のあり方、中間年改定について

- 薬価差を理由に毎年改定を実施し、加速度的に薬価が低下することが、日本市場の魅力の低下及び早期の採算性悪化に繋がり、革新的医薬品の早期アクセスや医療上必要性の高い医薬品の供給に影響を及ぼす。
- 本来的には、革新性・新規性の高い新薬、長期間にわたり医療の質向上に貢献している医薬品など、市場での価格競争も少なく医療ニーズの高い医薬品の薬価については、維持されるべきである。
- 過度な薬価差の偏在に対する流通上の取組みが検討されると認識しているが、薬価差を理由に毎年改定を実施している事実を鑑みれば、薬価差そのものが生じない仕組みを含め、薬価改定のあり方について検討を進めていくべきである。

高額医薬品に対する対応について

- 企業が新薬開発を進めていく上で開発投資コストの回収の予見性は重要であり、「高額医薬品に対する対応」の対象となる品目の算定を決定する際には、当該企業の意見を十分に踏まえた上で実施されるべきである。
- 「高額医薬品に対する対応」の対象となる品目について、再算定の取扱い等、薬価を引き下げのために既存ルールにない基準を新たに設定することは、日本市場への革新的な新薬の上市の判断に悪影響を与えかねないと考える。
- 市場規模の推計が困難な疾患を対象とした薬剤における薬価算定や、緊急承認された医薬品の本承認時における薬価算定の方法等については、新薬のイノベーションの評価、新薬を必要とする患者へのアクセス、企業の予見性の確保といった観点も十分に踏まえ、慎重かつ丁寧に検討する必要があると考える。

新薬創出等加算の返還タイミングについて

- 仮に、新薬創出等加算の返還タイミングについて議論をするのであれば、特許期間中の新薬の薬価を維持する仕組みの構築と併せて行われるべきである。

Appendix

具体的な価格調整方法(案)

- 欧米に遅れることなく上市される品目に対する先駆加算に準じた補正加算の新設

- ✓ 先駆的医薬品※については先駆加算(加算率10~20%)が付与されるが、適用される加算率は大部分が10%と限定的であり、日本に迅速に導入するためのインセンティブとしては不十分である
- ✓ 日本に迅速に導入されるために、先駆加算の評価充実のみならず、欧米に遅れることなく上市される品目についても準じた加算を新設する

※ 世界に先駆けて又は同時に日本で申請される品目

- 海外で想定される価値評価を踏まえた価格調整

- ✓ 日本で早期に上市する場合には外国価格を参照することが出来ず、欧米での上市から一定期間経過後に上市される場合と比較して薬価は低くなってしまう
- ✓ 薬価収載希望に際して企業が提出する情報に基づき、海外4か国(米英独仏)における上市予定、およびその想定される予定価格を確認し、妥当性が認められる場合には価格調整を行う

欧米の薬事上の各指定制度の対象

【米国】

ファストトラック指定

重篤な疾患に対してUnmet Needsを満たす、あるいは既存薬がない、既存治療を上回る可能性のある新薬

ブレイクスルー指定

ファストトラック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品目

【欧州】

Accelerated Assessment(迅速審査)

公衆衛生上大きなBenefitをもたらす画期的な新薬

PRIME(Priority Medicine)指定

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を示す品目

出典:政策研ニュース No.61 2020年11月発行 「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較 -2019年承認実績を中心に-」

国内未承認薬(ドラッグロス品目)の詳細について

- 2023年3月時点のドラッグロス品目(国内開発情報無し)※に関する薬効分類(ATC分類)と適応症
- 各品目の詳細情報は次頁以降参照

ATC分類	適応症	ATC分類	適応症
全身性抗感染症薬 (18品目)	尿路感染症, CABP, ABSSSI, 腹腔内感染症, 多剤耐性結核, 尋常性ざ瘡 ザイルエボラウイルス, HCV, 代償性肝硬変 天然痘, HIV-1, 炭疽	血液及び 造血器官用剤 (5品目)	鎌状赤血球症, 血管閉塞軽減, 鉄欠乏症 非経口栄養関連胆汁うっ滞, 静脈血栓塞栓症
消化管及び 代謝用剤 (11品目)	糖尿病(1型, 2型), POMCによる肥満症 α-マンノシドーシス, 慢性特発性便秘, IBS 原発性高シュウ酸尿症1型 長鎖脂肪酸酸化障害 旅行者下痢, カルチノイド症候群下痢	筋骨格筋用剤 (3品目)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー, 高尿酸血症,
神経系用剤 (10品目)	統合失調症, 片頭痛, 急性疼痛 悪心・嘔吐, 産後うつ病 (PPD) 閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSA) レノックス・ガトー症候群, Dravet症候群 オピオイド離脱症状緩和薬, パーキンソン病 ハンチントン病, 遅発性ジスキネジア	皮膚科用剤 (2品目)	尋常性ざ瘡
抗悪性腫瘍剤 (8品目)	乳がん(HER2+, TN), ALL, GIST 前立腺がん, 有毛細胞白血病 神経芽細胞腫	呼吸器用剤 (3品目)	嚢胞性線維症, COPD
抗寄生虫薬、殺 虫剤及び防虫 剤 (8品目)	シャーガス病, マラリア, オンコセルカ症 トリコモナス膣炎, アタマジラミ, 肝蛭症	免疫調節剤 (2品目)	多発性硬化症, 腎臓移植に伴う脱感作
		循環器用剤 (2品目)	家族性高カイロミクロン血症症候群(FCS) 敗血症患者への血管収縮剤
		全身性ホルモン 剤 ; 性ホルモン 剤除く (2品 目)	子宮内膜症性疼痛, デュシェンヌ型筋ジストロフィー
		感覚器用剤 (1品目)	ドライアイ

※ 2023年3月時点の国内開発情報無し86品目のうち、診断薬等11品目を除く75品目

全身性抗感染症薬(18品目: 1/2)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
EBANGA	RIDGEBACK BIOTHERAPEU TICS	○	2020	ザイールエボラウイ ルスによる感染	BT、 OR	情報無 し	—	ザイールエボラウイ ルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に 本剤の強さに推奨
INMAZEB	REGENERON PHARMACEUT ICALS		2020	ザイールエボラウイ ルスによる感染	BT、 OR	情報無 し	—	ザイールエボラウイ ルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に 本剤の強さに推奨
HEPCLUDEX	MYR GmbH	○	申請中	慢性D型肝炎ウイ ルス (HDV) 感染	—	2021	AA、PR、 OR	ウイルスタンパク質 阻害剤	無	無		○	
RUKOBIA	VIIV HLTHCARE	○	2020	HIV-1 感染症	FT、 BT	2021	—	T細胞表面抗原 CD4阻害剤	有 (但し核酸系 逆転写酵素阻害 剤、非核酸系逆転 写酵素阻害剤、プ ロテアーゼ阻害剤等 を組み合わせた治 療が標準)	無			海外GLでは新薬であり、 現時点では初期治療に 推奨されていない
XENLETA	NABRIVA	○	2019	細菌性肺炎	FT	2020	—	タンパク合成阻害 作用	無	無			国内GLでは市中肺 炎に対して 他薬剤有
PRETOMANID	MYLAN IRELAND		2019	多剤耐性結核	FT	2020	—	ミコール酸合成 阻害作用	有	無		○	米国CDC、WHOの GLでは推奨
NUZYRA	PARATEK PHARMS	○	2018	急性細菌性皮膚・ 皮膚組織感染症 (ABSSSI)	FT	Phase Ⅲ	—	細菌30Sリボソ ム蛋白阻害剤	無	無			国内GLでは市中肺 炎に対して 他薬剤有
SEYSARA	ALLERGAN		2018	尋常性ざ瘡	—	情報無 し	—	細菌70Sリボソ ム阻害剤	有	有	○		米国GLでは 第一選択薬の1つ
DELSTRIGO	MERCK SHARP AND DOHME		2018	HIV-1 感染症	—	2018	—	非ヌクレオシド系HIV 逆転写酵素阻害作 用/ヌクレオシド系 HIV逆転写酵素阻 害作用(2剤)	有	有	○		

注記(各資料共通) * BT: Breakthrough Therapy、FT: Fast Track、PR: PRIME、AA: Accelerated Assessment、OR: オープン

** 類似薬選定のための薬剤分類(改訂第13版)に基づき、薬剤分類や承認済適応症を考慮し判断(日薬連薬価研、製薬協調べ)

*** Evaluateの薬理分類に基づく

全身性抗感染症薬(18品目: 2/2)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
XERAVA	TETRAPHASE PHARMS	○	2018	複雑性腹腔内 感染症	FT	2018	—	細菌30Sリボソ ム蛋白阻害剤	有	無			
TPOXX	SIGA TECHNOLOGI ES	○	2018	天然痘	FT、 OR	2022	—	ワクシニアウイルス p37タンパク質阻 害剤	無	無	○	○	米国GLでは第一 選択
ZEMDRI	ACHAOGEN	○	2018	複雑性尿路感染 症	—	情報無 し	—	アミノグリコシド系	有	有			
TROGARZO	TAIMED BIOLOGICS USA	○	2018	HIV-1 感染症	FT、 BT、 OR	2019	—	T細胞表面抗原 CD4抗体	有 (但し、核酸系 逆転写酵素阻害 剤、非核酸系逆転 写酵素阻害剤、プ ロテアーゼ阻害剤等 を組み合わせた治 療が標準)	無		○	
VABOMERE	REMPEX PHARMS MEDCNS	○	2017	尿路感染症	FT	2018	—	細菌性ペニシリン 結合蛋白阻害 薬;βラクタマーゼ 阻害剤 (配合 剤)	有	有			カルバペネム耐性菌 はWHOから新規抗 菌薬が緊急とされて おり、代替薬は1剤の み
VOSEVI	GILEAD SCIENCES		2017	HCV, 代償性肝硬変	FT、 BT	2017	AA	C型肝炎NS3プロテアー ゼ阻害剤;C型肝炎 NS5A阻害剤;C型肝炎 NS5Bポリメラーゼ阻 害剤 (配合剤)	無	無	○		海外GLでは他剤 治療無効例に推 奨
BAXDELA	MELINTA	○	2017	急性細菌性皮膚 感染症(ABSSSI)	FT	2019	—	フルオロキノロン系 抗菌剤	有	無			
ANTHIM	ELUSYS THERAPEUTI CS	○	2016	抗炭疽菌症	FT	2020	OR	炭疽菌防御抗原 抗体	無	無	○	○	
ZEPATIER	MERCK SHARP DOHME		2016	HCV	BT	2016	—	C型肝炎NS5A阻 害剤;C型肝炎プ ロテアーゼ阻害剤	有	有	○		ゲノタイプ1型・4型 のHCVに使用 (海外GL)

消化管及び代謝用剤(11品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
IMCIVREE	RHYTHM	○	2020	POMCによる 肥満症	BT、 OR	2021	PR、OR	メラノコルチン-4受容 体アゴニスト	無	無	○	○	小児慢性特定疾病 (49)
OXLUMO	ALNYLAM PHARMS	○	2020	原発性高シュウ酸 尿症1型	BT、 OR	2020	PR、AA、 OR	グリコール酸オキシ ダーゼ阻害剤	無	無	○	○	指定難病(234)、 小児慢性特定疾病 (35 原発性高シュウ 酸尿症)
DOJOLVI	ULTRAGENYX PHARM	○	2020	長鎖脂肪酸 酸化障害	FT、 OR	情報無 し	—	トリグリセリド調節剤	無	無	○	○	指定難病(番号無 し)、小児慢性特定 疾病(49)
QTERNMET XR	ASTRAZENECA AB		2019	2型糖尿病	—	2019	—	DPP4阻害薬、 SGLT2阻害薬、ビグ アナイド剤(配合 剤)	有	有			
ZYNQUISTA	sanofi-aventis groupe		申請	1型糖尿病	—	2019	—	SGLT1阻害薬	有	無			
AEMCOLO	COSMO TECHNOLOGI ES	○	2018	旅行者下痢	FT	申請	—	細菌DNA標的RNA ポリメラーゼ阻害剤	無	無			
LAMZEDE	Chiesi Farmaceutic		申請	α-マンノシドーシス	OR	2018	OR	α-マンノシダーゼ 刺激薬	無	無	○	○	指定難病(ライソ ゾーム病として)
SEGLUROMET	MERCK SHARP DOHME		2017	2型糖尿病	—	2018	—	ビグアナイド剤、 SGLT2阻害薬 (配合剤)	有	無			
STEGLUJAN	MERCK SHARP DOHME		2017	2型糖尿病	—	2018	—	DPP4阻害薬、 SGLT2阻害薬 (配合剤)	有	有			
XERMELO	LEXICON PHARMS	○	2017	カルチノイド症候群 下痢	FT、 OR	2017	OR	トリプトファン水酸化 酵素阻害剤	無	無		○	
TRULANCE	SYNERGY PHARMS	○	2017	慢性特発性便秘、 IBS	—	情報無 し	—	グアニル酸シクラーゼ C型受容体アゴニスト	有	有			海外GLでリンゼス、 アミティーザと同レベル で推奨

神経系用剤(10品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
OLINVYK	TREVENA	○	2020	急性疼痛	FT	情報無 し	—	μオピオイド受容体作 動薬	有	有			
BARHEMSYS	ACACIA PHARMA	○	2020	術後の悪心・嘔吐	—	申請	—	ドパミンD2受容体拮 抗薬;ドパミンD3受 容体拮抗薬	有(但し、術 後悪心嘔吐に 対する適応有 の薬剤は無)	無			
UBRELVY	ALLERGAN		2019	片頭痛	—	情報無 し	—	CGRPアンタゴニスト	無(既存薬は 注射剤(抗 体)、本剤は 経口剤(低分 子))	無			
CAPLYTA	INTRA- CELLULAR	○	2019	統合失調症	FT	Phase Ⅲ	—	セロトニン受容体拮 抗薬;ドパミンD2受 容体拮抗薬	有	無			
SUNOSI	JAZZ PHARMA IRELAND		2019	閉塞性睡眠時無 呼吸症候群	OR	2020	—	抗ドパミン作用/抗セ ロトニン作用	無	無		○	
ZULRESSO	SAGE THERAPEUTIC S	○	2019	産後うつ病(PPD)	BT	情報無 し	—	GABA A受容体 調節薬	無	無			
EPIDIOLEX	GW RESEARCH	○	2018	レノックス・ガトー症 候群、Dravet症 候群	FT、 OR	2019	OR	カンナビノイド(CB) 受容体 作動薬	無	無	○	○	日本てんかん協会等よ りエピディオレックス(カ ンナビジオール医薬品) 承認の要望書有
LUCEMYRA	US WORLDMEDS	○	2018	オピオイド離脱症状 緩和薬	FT	申請	—	α2アドレナリン 受容体作動薬	無	無			
AUSTEDO	TEVA BRANDED PHARM		2017	ハンチントン病、遅 発性ジスキネジア	OR	情報無 し	—	小胞モノアミントラン スポーター2阻害剤	有	有		○	
NUPLAZID	ACADIA PHARMS	○	2016	パーキンソン病に伴 う幻覚 及び妄想	BT	Phase Ⅲ	—	5-HT2A受容体 インバースアゴニスト	無	無			

抗悪性腫瘍剤(8品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
MARGENZA	MACROGENIC S	○	2020	HER2乳がん	FT	Phase Ⅲ	—	抗体依存性細胞障 害作用 (抗HER2ヒト型モノク ローナル抗体)	有	有			今後日本での開発・承 認が期待される(乳癌 診療ガイドライン2022 年版)
DANYELZA	Y-MABS THERAPEUTI CS	○	2020	神経芽細胞腫	BT、 OR	Phase Ⅱ	—	GD2結合モノク ローナル抗体	有	有	○	○	小児慢性特定疾病 (27)
QINLOCK	DECIPHERA PHARMACEUT ICALS	○	2020	進行性消化管間 質腫瘍(切除不 能または転移性 GISTに対する二次 療法)	FT、 BT、 OR	2021	OR	抗腫瘍作用 チロシキナーゼ阻 害作用	有(海外では 先行治療の無 効例に対する 適応)	無		○	希少がんに対する新 薬開発について要望 書(21年5月 GISTERS、日本希 少がん患者会ネット ワーク)
AYVAKIT	IMMUNOMED		2020	胃腸間質腫瘍	FT、 BT、 OR	2021	OR	抗腫瘍作用 チロシキナーゼ阻 害作用	無(本剤は標 準治療が反応 しないPDGFA エクソン18に変 異を持つ進行 GIST患者が 対象)	無		○	
TRODELVY	BLUEPRINT MEDICINES	○	2020	トリプルネガティブ 乳がん	FT、 BT	2021	AA	抗Trop-2 ADC	無	無			早期承認に向けた要望 書(21年3月、ふくろ の会)、未承認薬検 討会議(要望番号IV- 105)
ASPARLAS	SERVIER PHARMA		2018	急性リンパ性白 血病(ALL)	OR	情報無	—	アスパラギナーゼ受 容体刺激作用	有	有	○	○	
LUMOXITI	ASTRAZENEC A AB		2018	有毛細胞白血病 (HCL)	FT、 OR	2021	OR	核酸合成阻害作用/ 二本鎖DNA切断作 用/抗体薬物複合体	無	無		○	
TOOKAD	STEBA Biotech S.A	○	—	前立腺がん	—	2017	—	細胞内呼吸障害 作用・活性酸素生 成作用	無	無			

抗寄生虫薬、殺虫剤及び防虫剤(8品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
LAMPIT	BAYER HEALTHCARE		2020	シャーガス病	OR	情報無 し	—	ニトロフラン 抗原虫薬	無	無	○	○	シャーガス病の診 療GLにて、治療薬 の1つとして位置づ けられ、WHOから 入手する必要性が 提示
XEGLYZE	DR REDDYS LABS SA		2020	アタマジラミの 局所治療	—	情報無 し	—	マトリックスメタロプ ロテイナーゼ (MMP) 阻害剤	有(但し、同 一効能薬は 無し)	無	○		
ARTESUNATE	AMIVAS	○	2020	マラリア	FT、 BT、 OR	2021	OR	抗マラリア薬	無(本剤は 注射剤だが、 錠剤の別成 分既存薬は 有)	無	○	○	
EGATEN	NOVARTIS PHARMS		2019	肝蛭症	FT、 OR	情報無 し	—	駆虫薬	無	無		○	
KRINTAFEL	GLAXOSMITH KLINE 60 DEGREES PHARMS		2018	マラリア	BT、 OR	情報無 し	—	ミトコンドリアチトク ロムc還元酵素 阻害剤	有	無		○	
MOXIDECTIN	MDGH	○	2018	オンコセルカ症の 駆虫薬	OR	情報無 し	—	駆虫薬	無	無	○	○	
SOLOSEC	LUPIN		2017	細菌性膣炎	FT	情報無 し	—	ニトロイミダゾール 系抗菌薬	無	無	○		
BENZNIDAZO LE	CHEMO RESEARCH SL		2017	シャーガス病	OR	情報無 し	—	ニトロイミダゾール 系抗菌薬	無	無	○	○	シャーガス病の診療 GLにて、治療薬の1 つとして位置づけられ、 WHOから入手する 必要性が提示

血液及び造血器官用剤(5品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無**	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 ***	小児	希少 疾病	開発要望、 学会ガイドライン等
OXBRYTA	GLOBAL BLOOD THERAPY	○	2019	鎌状赤血球症	FT、 BT、 OR	2022	PR、OR	鎌状赤血球ヘモグ ロビン (HbS) 重合阻害剤	無	無	○	○	小児慢性特性疾 病 (13)
ADAKVEO	NOVARTIS PHARMS		2019	鎌状赤血球症に よる血管閉塞軽減	BT、 OR	2020	OR	P-セレクチン抗体	無	無		○	
OMEGAVEN	FRESENIUS KABI USA		2018	非経口栄養関連 胆汁うっ滞	FT、 OR	情報無 し	—	不明	無	無	○	○	「小児静脈栄養関 連胆汁うっ滞にお ける栄養補給」に ついて未承認薬検 討会議に開発要 望が提出有 (要 望番号IV-72)
BEVYXXA	PORTOLA PHARMS	○	2017	静脈血栓塞栓症	FT	情報無 し	—	凝固第Xa因子 阻害薬	有	有			
ACCRUFER	SHIELD TX	○	2019	鉄欠乏症	—	2016	—	ヘモグロビン調節薬	有	有			

筋骨格筋用剤(3品目)、全身性ホルモン剤(2品目)、皮膚科用剤(2品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無***	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 **	小児	希少 疾病	開発要望、学会ガイ ドライン等
VYONDYS 53	SAREPTA THERAPEUTI CS		2019	デュシェンヌ型 筋ジストロフィー	FT、 OR	Phase Ⅲ	—	エクソン53 スキッピング作用	有	有	○	○	指定難病(113)、 小児慢性特性疾病 (45) 疾患全体としての開 発要望(日本筋ジ ストロフィー協会、 2023年6月)
EXONDYS 51	SAREPTA THERAPEUTI CS		2016	デュシェンヌ型 筋ジストロフィー	FT、 OR	Phase Ⅲ	—	エクソン51 スキッピング作用	無	無	○	○	
DUZALLO	Ardea Biosciences		2017	高尿酸血症	—	2018	—	URAT1阻害薬、 キサンチンオキシ ダーゼ阻害薬(配 合剤)	有	無			
ORILISSA	ABBVIE		2018	子宮内膜症への 痛み	—	情報無 し	—	GnRH受容体 拮抗薬	有	有			
EMFLAZA	MARATHON PHARMACEU TICALS	○	2017	デュシェンヌ型 筋ジストロフィー	FT、 OR	開発情 報なし	—	抗炎症作用/免 疫抑制作用・糖質 副腎皮質ホルモ ン作用・ステロイ ドレセプター結 合、特異的タン パク合成促進作 用	有(同一作 用機序の既 存薬はあるが 当該適応症 無)	無	○	○	指定難病(113)、 小児慢性特性疾 病(45) 疾患全体としての 開発要望(日本筋 ジストロフィー 協会、2023年6 月)
WINLEVI	CASSIOPEA SPA	○	2019	尋常性ざ瘡	—	Phase Ⅲ	—	アンドロゲン受 容体調節薬	無	無	○		米国の尋常性ざ 瘡GLにおいて、 第一選択枝の1つ
AKLIEF	GALDERMA		2018	尋常性ざ瘡	—	申請	—	レチノイド酸受 容体γアゴニ スト	有	有	○		米国の尋常性ざ 瘡GLにおいて、 第一選択枝の1つ

呼吸器官用剤(3品目)、免疫調整剤(2品目)、循環器官用剤(2品目)、感覚器官用剤(1品目)

米国 製品名	米国FDA 又はEMA 申請企業	ベン チャー	米国 承認年	米国又は欧州で の適応疾患	米国の 薬事特 例指定 *	欧州 承認年	欧州の 薬事特 例指定*	薬理作用	当該適応症を有 する既存薬の有 無***	国内で当該 適応症での 当該作用機 序薬の有無 **	小児	希少 疾病	開発要望、学会ガイ ドライン等
TRIKAFTA	VERTEX PHARMS		2019	嚢胞性線維症	FT、 BT、 OR	2020	OR	嚢胞性線維症膜 コンダクタンズ制御 因子 (CFTR) 増強薬;嚢胞性線 維症膜コンダクタン ズ制御因子 (CFTR)	無	無	○	○	指定難病 (299)、小児慢 性特定疾病 (8)
SYMDEKO	VERTEX PHARMS		2018	嚢胞性線維症	FT、 BT、 OR	2018	OR		無	無	○	○	
YUPELRI	MYLAN IRELAND		2018	閉塞性肺疾患 (COPD)	—	情報無 し	—	長時間作用性抗 コリン薬 (LAMA)	有	有			
IDEFIRIX	Hansa Biopharma AB	○	情報無 し	腎臓移植に伴う 脱感作	—	2020	PR,OR	免疫グロブリン 阻害薬	有	無		○	
ZIMBRYTA	BIOGEN		2016	多発性硬化症	—	2016	—	インターロイキン2 (IL-2) 受容体 サブユニットα抗体	有	無			
WAYLIVRA	Akcea Therapeutics Ireland	○	情報無 し	家族性高カイロミ クロン血症症候群 (FCS)	OR	2019	—	アポリポ蛋白C (ApoC) 3アンチ センス	無	無		○	
GIAPREZA	LA JOLLA PHARM CO	○	2017	敗血症患者への 血管収縮剤	—	2019	—	アンジオテンシンII 受容体1 (AT1) アゴニス ト	無	無			
XIIDRA	SHIRE DEV		2016	ドライアイ	—	Phase Ⅲ	—	リンパ球機能関連 抗原1 (LFA1) 拮抗薬	有	無			ノバルティス社が 本資産を現在承 継

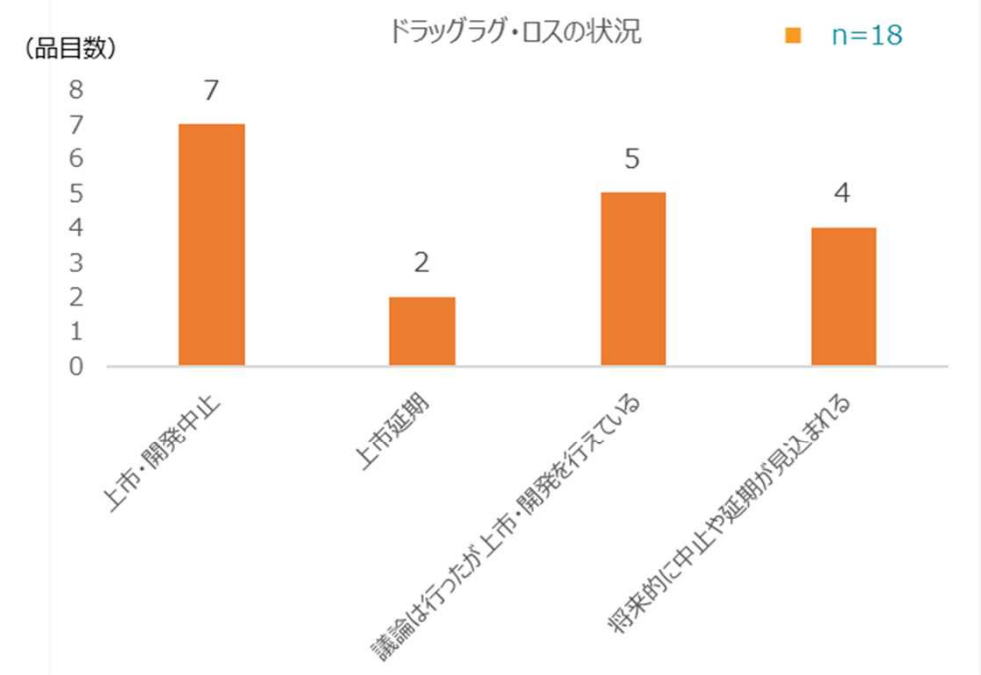
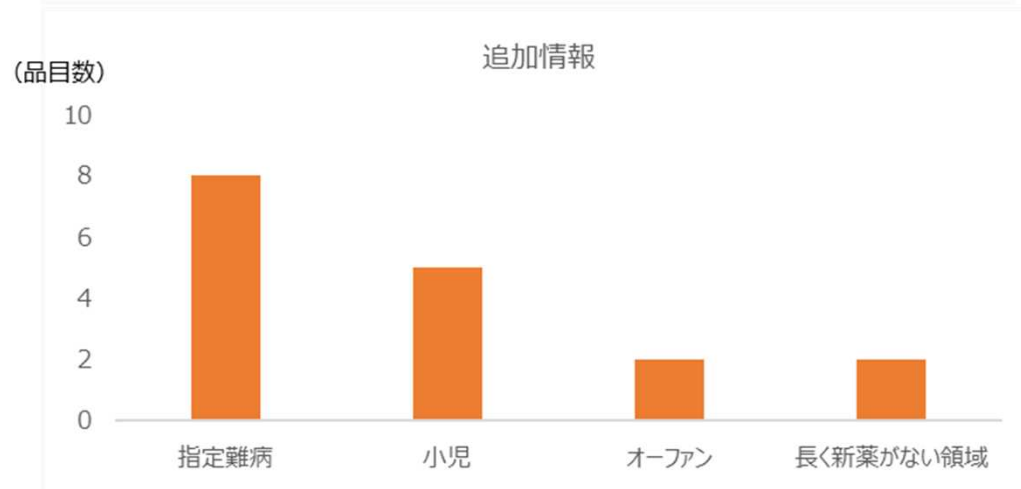
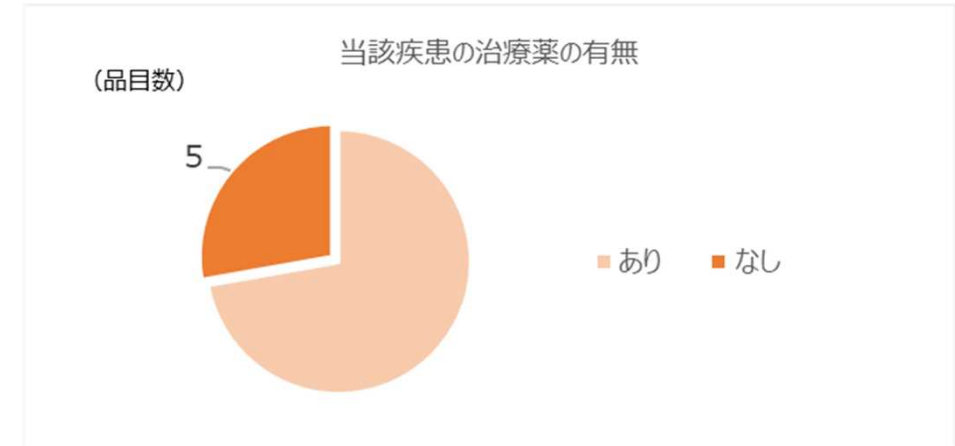
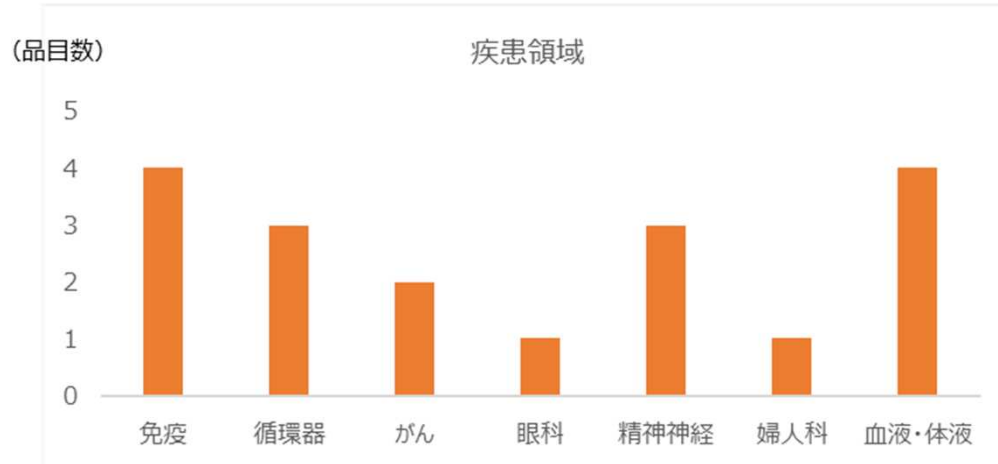
薬価が開発判断に影響を与えた事例

■ PhRMA薬価委員会加盟12社のうち、8社において該当事例あり。

課題	事例	企業数	主な製品事例	ドラッグ ラグ ロス
収載時の 薬価算定	類似薬となる可能性のある既収載品の薬価水準が低く、原価計算方式の適用も不確実なため、国内開発・申請を見送り	5社	- 希少疾病対象(米国でBreak-through指定) - 難病対象	ロス
	想定される薬価が欧米に比べて低く、外国価格調整適用を待つこと等でラグが発生	3社	- 希少疾病対象(米国でBreak-through指定、欧州でPRIME指定) - 新規作用機序	ラグ
新薬創出等 加算	2018年の品目要件変更により新薬創出等加算への該当性が不確実となったため、国内開発を見送り	2社	患者数の少ない疾患(新たに買収した会社の製品)	ロス
	2018年の品目要件変更により新薬創出等加算への該当性が不確実となったため、国内開発計画を変更した結果、ラグが発生	2社		ラグ
再算定	再算定に該当する可能性があるため、効能追加の開発を見送り	1社	- その疾患に対する初めての薬物療法 - 抗がん剤(米国でBreak-through指定)	ロス
	再算定に該当する可能性があるため、効能追加の開発計画を変更した結果、ラグが発生	1社		ラグ
日本の 優先度	日本価格の参照による外国価格への影響を避けるため、日本での上市を先送り	2社	難病対象(新たに買収した会社の製品。米国でBreak-through指定、欧州でPRIME指定)	ラグ
	海外ベンチャー企業からの導入品で、導入時点で日本向けの開発が行われていなかったため、後追いで開発を開始した結果、ラグが発生。当該ベンチャー企業は米国・欧州での開発・上市を最優先し、欧米で承認・上市の見通しが立った段階で、日本への進出を検討する予定であった。日本を後回しにした判断には、治験・薬事の問題に加えて、薬価や市場の成長性の問題も影響した。	2社		ラグ

ドラッグラグ・ロス事例

- EFPIA Japan薬価経済委員会参加企業17社に対して調査を依頼し、13社より回答
- 調査対象品目は、他国では早期に上市（または開発継続）している一方で、2018年度薬価制度抜本改革以降、日本において「薬価」が理由の一つとなって開発が遅延（または中止）した品目、あるいは中止・遅延に係る議論が行われた品目



上市延期・中止、または議論を行った主な理由

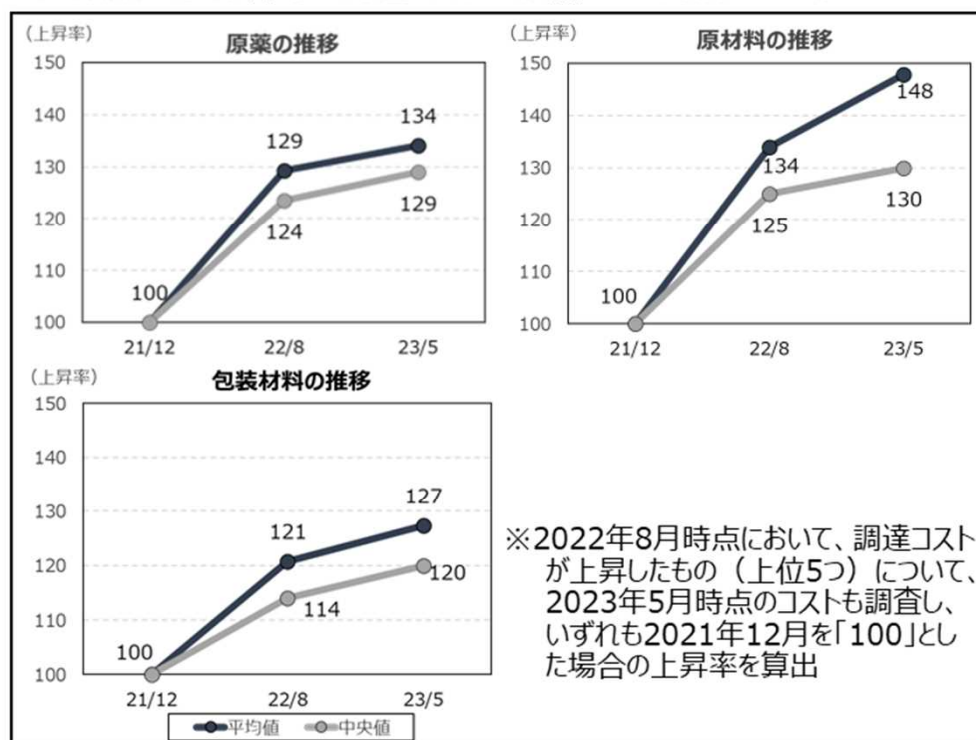
- 日本の想定薬価が他国に比べ低く、他国への影響を懸念したため
- 製造、開発コストに対する想定薬価が低かったため
- 追加効能に関して、市場拡大再算定のリスクを回避するため
- 小児開発に対する薬価上のメリットが小さいため

物価高騰等の影響を踏まえた対応について

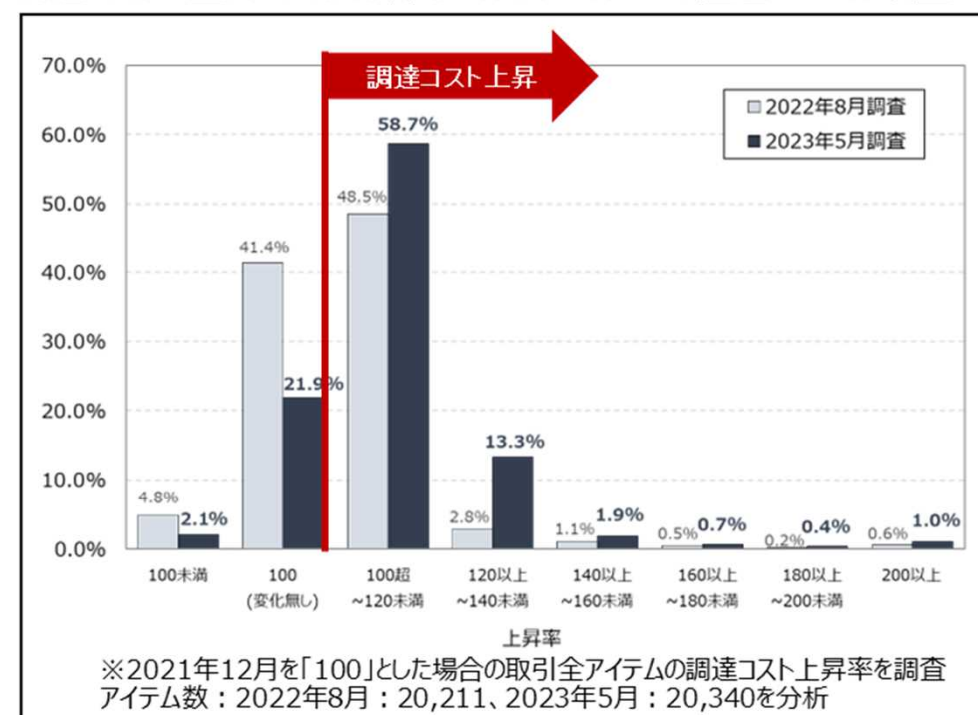
【次期薬価制度改革に向けた要望事項】

- 物価高騰等の影響により、依然として原材料等の調達コストが高騰しており、その影響は昨年よりも大きくなっている現状がある。
- 医薬品の安定供給に大きな影響を与える特殊な事情がある場合には、不採算が確実に解消されるよう、適時薬価を引き上げる仕組みが必要である。
- 現在、デフレから潮目が変わり、今後も急激な物価上昇が起きる可能性があることを踏まえれば、薬価おける対応について本質的な検討を進めるべきである。

○医薬品の原材料等の調達コストは依然として高騰している

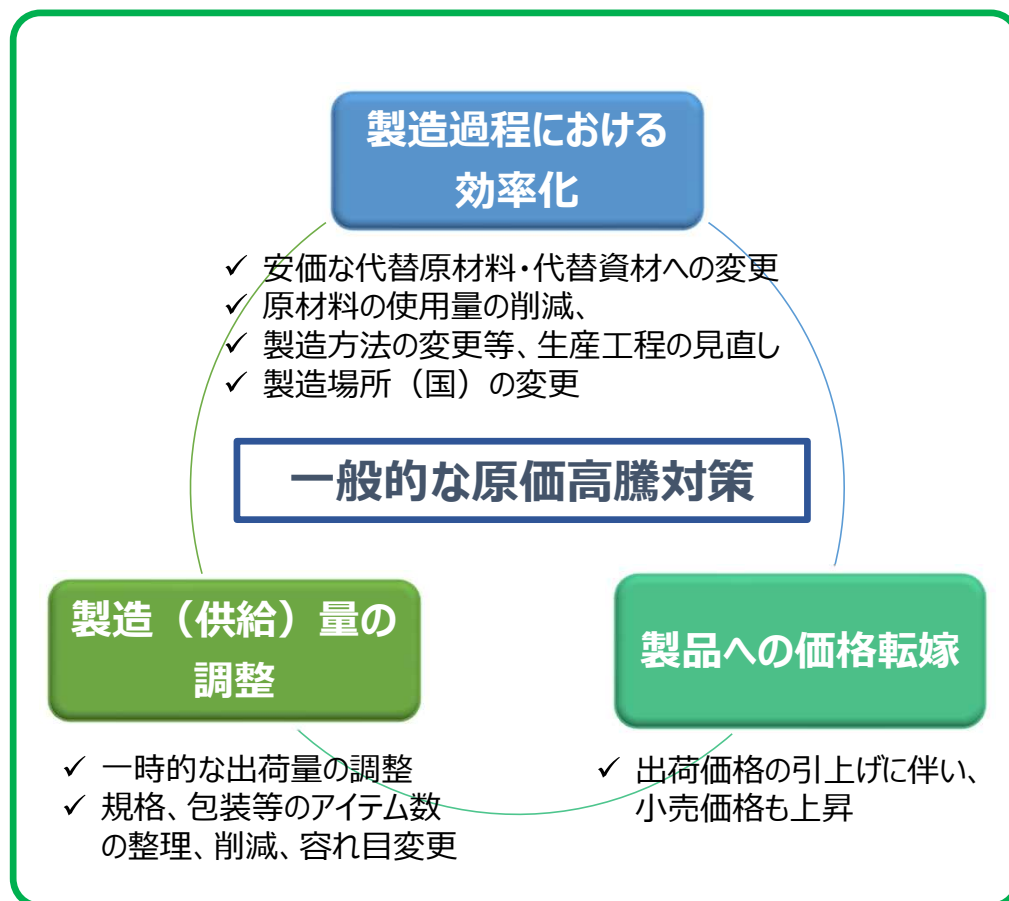


○調達コストが上昇した原材料等の割合は増加し、直近では7割以上である



原価（原材料・資材、エネルギー）高騰対策と 医薬品の特性について

- 医薬品は一般的な消費財等と異なり、その特性のため「製造過程における効率化」「製品への価格転嫁」「製造（供給）量の調整」といった対策を柔軟に行うことはできない。



【医薬品の特性を踏まえた実態】

製造過程における効率化

- 医薬品の製造は薬機法※1、GMP省令※2に則り、「**医薬品製造販売承認書**」に記載された製造方法、製造場所にて、承認書に規定された原材料・資材（メーカー、グレードの規定のある場合も）を用い製造し、承認規格を満たす必要があることから、製造の効率化を柔軟に実施できない
- 品質確保の観点からも、**原材料・資材の変更には検証が必要、承認変更手続きも必要**

製品への価格転嫁

- 薬価基準制度下においては、**不採算品再算定が適用されるなど薬価が引き上がらない限り、製品への価格転嫁は困難**

製造（供給）量の調整

- 生命関連製品であることから、**安定供給が求められており、採算性を理由に製造量の調整はできない**

※1：医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律

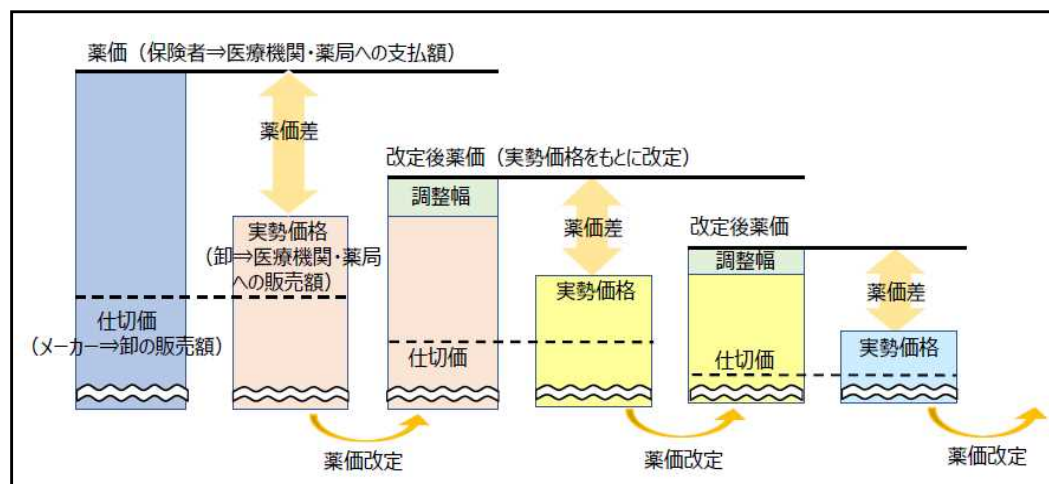
※2：医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令
(Good Manufacturing Practice)

薬価改定のあり方について

【中長期的な視点からの検討要望】

- 現行の市場実勢価格に基づく薬価改定方式では必然的に薬価差が発生する。
- 薬価差を理由に毎年改定を実施し、加速度的に薬価が低下することが、日本市場の魅力の低下及び早期の採算性悪化に繋がり、革新的医薬品の早期アクセスや医療上必要性の高い医薬品の供給に影響を及ぼす。
- 過度な薬価差の偏在に対する流通上の取組が検討されると認識しているが、薬価差を理由に毎年改定を実施している事実を鑑みれば、薬価差そのものが生じない仕組みを含め、薬価改定のあり方について検討を進めていくべきである。
- また、薬価差が果たしている役割を明確にしたうえで、必要分を診療報酬・調剤報酬の中で評価することも検討が必要である。

【現行の薬価改定方式下における価格形成と薬価改定】



【毎年の薬価改定による薬価推移のイメージ】



医薬品の銘柄別の供給状況調査



－2023年7月供給実態の概要－

- ・「限定出荷」と「供給停止」の品目は全体の**22.4%**であり、後発品では**32.4%**であり、先月に比べ大きな変化はない。
- ・一方、製造販売業者の出荷量は「A.出荷量通常」以上は**83.1%**である
- ・安定確保医薬品の通常出荷の割合は**76.0%**。特にカテゴリ-Aでは**69.0% (191/277)**となっており、**全体の77.6%に比べ低い。**

製造販売業者の対応状況

製造販売業者の 対応状況	合計		先発品		長期収載品		後発品		その他の医薬品	
	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比
①通常出荷	13,224	77.6%	2,344	93.6%	1,255	87.9%	5,952	67.6%	3,673	85.5%
通常出荷以外	3,811	22.4%	161	6.4%	173	12.1%	2,855	32.4%	622	14.5%
限定出荷	2,395	14.1%	92	3.7%	138	9.7%	1,831	20.8%	334	7.8%
②自社の事情	708	4.2%	49	2.0%	24	1.7%	510	5.8%	125	2.9%
③他社品の影響	1,527	9.0%	37	1.5%	104	7.3%	1,238	14.1%	148	3.4%
④その他	160	0.9%	6	0.2%	10	0.7%	83	0.9%	61	1.4%
⑤供給停止	1,416	8.3%	69	2.8%	35	2.5%	1,024	11.6%	288	6.7%
未回答	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
総計	17,035	100%	2,505	100%	1,428	100%	8,807	100%	4,295	100%

(参考) 基礎的医薬品		(参考) 安定確保医薬品				
品目数	構成比	品目数	構成比	A	B	C
1,473	91.0%	3,899	76.0%	191	99	3,609
145	9.0%	1,234	24.0%	86	18	1,130
94	5.8%	842	16.4%	69	11	762
29	1.8%	235	4.6%	18	5	212
57	3.5%	565	11.0%	51	6	508
8	0.5%	42	0.8%	0	0	42
51	3.2%	392	7.6%	17	7	368
0	0.0%	0	0.0%	0	0	0
1,618	100%	5,133	100%	277	117	4,739

製造販売業者の出荷量の状況

製造販売業者の 出荷量の状況	合計		先発品		長期収載品		後発品		その他の医薬品	
	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比	品目数	構成比
A.プラス.出荷量増加	3,382	19.9%	193	7.7%	167	11.7%	2,532	28.7%	490	11.4%
A.出荷量通常	10,766	63.2%	2,144	85.6%	1,136	79.6%	4,294	48.8%	3,192	74.3%
B.出荷量減少	1,158	6.8%	78	3.1%	84	5.9%	778	8.8%	218	5.1%
C.出荷停止	702	4.1%	36	1.4%	20	1.4%	443	5.0%	203	4.7%
D.販売中止	1,027	6.0%	54	2.2%	21	1.5%	760	8.6%	192	4.5%
総計	17,035	100%	2,505	100%	1,428	100%	8,807	100%	4,295	100%

(参考) 基礎的医薬品		(参考) 安定確保医薬品				
品目数	構成比	品目数	構成比	A	B	C
192	11.9%	1,192	23.2%	83	26	1,083
1,257	77.7%	3,147	61.3%	162	76	2,909
99	6.1%	343	6.7%	15	8	320
37	2.3%	188	3.7%	6	2	180
33	2.0%	263	5.1%	11	5	247
1,618	100%	5,133	100%	277	117	4,739

※供給実態の概要品目数：全薬価収載品目のうち、適切な回答があった品目（17,035品目）について集計

※その他医薬品：局方品、漢方エキス剤、生薬、生物製剤（ワクチン、血液製剤等）、承認が昭和42年以前の医薬品など

※基礎的医薬品：医療上の必要性から薬価上の措置（薬価の下支え）が行われている医薬品

※安定確保医薬品：医療上必要不可欠であって、汎用され、安定確保について特に配慮が必要な医薬品

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料

再生医療等製品の価格算定に対する意見

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)
2023年9月20日

再生医療等製品の特徴を踏まえた薬価算定のあり方について

薬価算定組織からのご意見（中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第207回）薬-1-1）

（4）再生医療等製品のイノベーション評価

【背景・課題】

- 再生医療等製品は、個別の製品の特徴を踏まえ、医薬品の例により対応するか、医療機器の例により対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断することとされており、令和5年5月までに10品目を医薬品の例により算定し、薬価収載が行われている。**再生医療等製品は多種多様であり、これまでに薬価算定を行った品目には、自家細胞製品、他家細胞製品及び遺伝子治療製品があるが、それぞれに大きな特徴の差異がある。**
- 再生医療等製品は、**その使用方法のみならず、臨床的な価値や製造方法、品質管理など様々な点において一般的な医薬品とは異なっている。**有用性の評価や原価計算方式において計上を認める費用の範囲など、**個々の製品の特徴に加え、再生医療等製品ならではの特徴を踏まえた対応が必要**であるが、算定実績はまだ限られているのが現状である。

【意見】

- 再生医療等製品のうち医薬品の例により対応すると判断されたものについては、**引き続き事例を集積し、再生医療等製品の特徴を踏まえた薬価算定のあり方について検討**することとしてはどうか。

FIRMの考え方

- 事例の集積について引き続きFIRMとして貢献し、**事例に基づき現行制度を再生医療等製品に適用する際のlimitationを明確化**していく
- その上で、アカデミアの先生方との継続的な意見交換を経て、**FIRMとして「再生医療等製品の特徴を踏まえた価格算定の在り方」の検討に資する提案**を行いたい
- 次回（令和8年度）改定に向けて**「再生医療等製品の特徴を踏まえた薬価算定の在り方」の検討**をお願いしたい。FIRMも最終的な**制度実装に向けた議論**に貢献していく

- 令和6年度改定に向けて -

原価計算方式の課題とその対応について（1/2）

- 新規技術を用い、治療方法のない領域の場合、原価計算方式での算定方式になりやすく、下記の課題が生じている
- これらの課題を踏まえた、原価計算方式の運用が必要であるとする

項目名		課題	再生医療等 製品の課題	バイオ医薬品 等を含む課題
製造原価	① 原料費	① 品質の均質性が求められる		
	容器包装材料費			
	② 労務費			
	エネルギー	② 製造部門の人材水準が高く人件費が高い		
	③ 設備償却費			
	消耗品他			
	仕損費			
一般管理 販売費	一般管理/販売費	③ 独自の設備投資が必要		
	研究開発費 (基礎/臨床/PMS)			
	ロイヤリティ			
営業利益				
流通経費				
消費税				

- 遺伝子や生きた細胞、組織（凍結保存も含む）を製品として使用するため、製品の安全性の観点から製造過程で製品毎に多様な品質保証試験が課されているが、費用として認められない場合がある
- 総製造量に対して検査用製品や参考品の割合が高いが、その一部が費用として認められない場合がある

- 製造プロセスの複雑性が高いため、高度技術を持つ人材が必要がある
- 平均労務単価で労務費を算出すると実際費用から大きく乖離する
- 製造従事時間のみでなく、人材の育成、雇用の維持費用も必要がある

- 製造設備は当該製品専用であり転用が極めて困難であるが、製造に必要な設備費用が認められていない事例がある
- 一つの製品を単一の企業で研究・開発・製造するのは難しく、周辺産業からの原材料・試薬供給やCMOとの協働が不可欠であり、その委託費用が発生する

- 令和6年度改定に向けて -

原価計算方式の課題とその対応について（2/2）

- 新規技術を用い、治療方法のない領域の場合、原価計算方式での算定方式になりやすく、下記の課題が生じている
- これらの課題を踏まえた、原価計算方式の運用が必要であるとする

項目名		課題	再生医療等 製品の課題	バイオ医薬品 等を含む課題
製造原価	原料費	4 製造の不確実性に起因する損失が企業の持ち出しになる 5 高額な特許維持費やライセンス料が必要		
	容器包装材料費			
	労務費			
	エネルギー			
	設備償却費			
⑤ 一般管理販 売費	消耗品他	5 高額な特許維持費やライセンス料が必要		
	④ 仕損費			
	一般管理/販売費			
	研究開発費 (基礎/臨床/PMS)			
	ロイヤリティ			
	営業利益			
⑥	流通経費	6 主に自家細胞製品で重い流通インフラ投資が反映されない		
	消費税			

- 同一製造条件であっても品質がばらつく傾向（特に自家細胞系）にあるが、損失が生じた場合、企業が負担せざるを得ない

- 再生医療等製品は低分子医薬品と異なり、一つの製品に自社特許に限らず複数の特許から成り立っている場合が多い
- 特許維持費、特許ライセンス料等が低分子医薬品よりも高額になる
- アカデミアやベンチャーが製品のオリジネーターであることが多いが、そのライセンス料が十分に認められていない
- 臨床試験はCROへの委託を行うことが一般的であるが、実際にCROに支払った費用は認められない

- 製品毎に流通特徴が異なる（特に自家細胞系の流通）
- 流通経費に実費が反映されておらず製造原価の高低に依存している

原価計算方式の課題に係る意見①（再生医療等製品に特徴的な課題）

【意見】製造・品質管理に係る課題を背景とする費用を、原価計算方式に計上可能な対象とする検討・運用が必要である

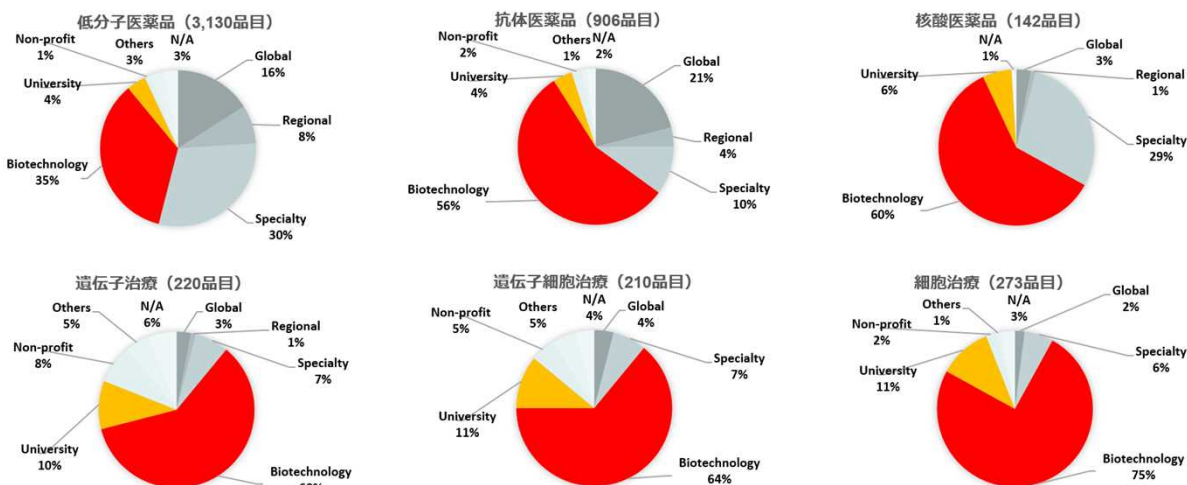
製造・品質管理に係る課題	解決に向けた意見
市販後の品質管理（ベリフィケーション）費用が認められない場合がある	承認書に記載される試験検査に加え、承認時に求められるベリフィケーションに係る費用についても計上する運用の検討が必要である。
平均労務単価で労務費を算出すると実際費用から大きく乖離する場合がある	作業者の教育・習熟に係る労務費や、自家製品においては製造の繁忙に対応するために確保する作業者の待機時間に係る労務費について、妥当と判断される範囲において、その費用を計上する運用の検討が必要である。
（自家細胞製品）品質のばらつきによる製造失敗や、患者の状態悪化等による投与キャンセルが生じた場合、企業がその費用を負担せざるを得ない	治験時において投与のかわなかった損失費用について、妥当な範囲で計上可能となるよう、運用の検討が必要である。

原価計算方式の課題に係る意見②（医薬品にも関連する課題）

【意見】 オリジネーターと企業との契約金を精査し、原価計算方式に計上可能な対象費用の検討・運用が必要である

【背景】 大学やベンチャー企業を起源とする医薬品や再生医療等製品が存在する。特に、再生医療等製品ではオリジネーター起源の割合が多くを占める。このような状況であるが、契約金が原価計算方式に計上不可とされたケースがある。

開発パイプラインのオリジネーター分類内訳 （単位：％）



*出所：令和5年7月5日 中医協薬価専門部会 FIRM意見陳述資料

- オリジネーターを起源とするトレンドは、再生医療等製品以外のモダリティにも共通するため、そのトレンドを反映した運用が必要と考える。
- 契約金すべてが計上されない理由は、妥当な費用範囲を特定することが困難であること、と考えられる。それを**特定可能な場合**は内容をより精査し、原価計算方式として妥当な費用を計上できるよう、運用して頂きたい。

補足資料

原価計算方式の課題に係る意見①（再生医療等製品に特徴的な課題） 具体的事例

製造・品質管理に係る課題	事例	解決に向けた意見
市販後の品質管理（ペリフィケーション）費用が認められない場合がある	■ 今般、条件及び期限付承認品目だけでなく、正式承認品目であっても、承認書の規格試験に加えて多数のペリフィケーションの市販後実施が求められている。 ■ 再生医療等製品の品質評価*には、製品を消費する必要がある。概ね少量生産である中で、検査用に余剰に製造することとなる。「総製造量に対して検査用製造の占める割合」は、医薬品と比較して極めて高い傾向となる。 ✓ 「2023年8月時点で既承認の再生医療等製品（3社3製品）」について、総製造量に対する検査用製造の占める割合は、14.8～50%** （参考）抗体医薬は0.2-1万本（1ml/本）に対し200-300本と数%程度）***	承認書に記載される試験検査に加え、承認時に求められるペリフィケーションに係る費用についても加算する運用の検討が必要である。
平均労務単価で労務費を算出すると実際費用から大きく乖離する場合がある	■ 平均労務単価×作業時間で労務費を算出する際に、以下の課題が生じる。** ①培養など手作業の多い再生医療等製品において必要な、作業者の教育・習熟に係る費用は計上できない。 ②自家製品は受注生産のため製造に繁忙が生じやすく、受注に適時対応するには作業者を一定程度確保しておく必要があるが、その待機時間に係る費用は計上できない。	作業者の教育・習熟に係る労務費や、自家製品においては製造の繁忙に対応するために確保する作業者の待機時間に係る労務費について、妥当と判断される範囲において、その費用を計上する運用の検討が必要である。
（自家細胞製品）品質のばらつきによる製造失敗や、患者の状態悪化等による投与キャンセルが生じた場合、企業がその費用を負担せざるを得ない	■ 生物由来原材料を使用することから、同一製造条件であっても品質にばらつきが生じることがあり、製造失敗の事例が生じることがある：近年、製造失敗の実態も報告されており[†]、企業側の負担は一定程度存在していることが明らかになっている ✓ （例）解析対象408例のうち30例（7.4%）に製造失敗が認められた。製造失敗を生じた30例のうち、最終的に投与に至った症例は12例（40%）に留まった^{††} ■ 開発困難な重篤な疾患領域に対してアプローチする製品も多く、患者の状態の急変等により、製造開始後に投与キャンセルが生じる事例もある	治験時において投与のかなわなかった損失費用について、 妥当な範囲で計上可能となるよう、運用の検討が必要である。

*補足：再生医療等製品は、原料細胞が多様な特性を有していること、自家製品では原料品質に大きな個人差があること、等から承認までに最終製品品質の均質性・再現性を恒常的に確保できる製造管理パラメータを確立することが困難である。承認前の製造実績が少数となることも含め、市販後の製造実績を活用した品質管理戦略が求められている。

出所：FIRM加盟企業を対象とした定性・定量調査（既存の再生医療等製品をもつ製造販売企業を対象）、*出所：7/5中医協薬価専門部会 FIRM意見陳述資料（アサー・ディ・リトル分析）

†出所：RETROSPECTIVE MULTICENTRIC COMPARISON OF OUT-OF-SPECIFICATION AND STANDARD-OF-CARE TISAGENLEUCEL INFUSION FOR DIFFUSE LARGE B-CELL LYMPHOMA (<https://ebmt2023.abstractserver.com/program/#/details/presentations/1404>) 等、††出所：British Journal of Haematology, 202(2), 256-266. ([British Journal of Haematology | Wiley Online Library](https://www.bjha.com/article/S0950-2688(20)00000-0))

- 再生医療等製品の特徴を現行算定方式に反映できる仕組みへの改善 - 原価計算方式に関連し、近い将来予想される課題

【要望】市場拡大再算定は、個々製品の特長や再算定時のコスト構造等を踏まえ慎重に検討して頂きたい。

【背景】再生医療等製品の中には、「1患者1製品」や培養継代上限等の特徴により、大量生産には不向きな製品もある。販売数量が増加した場合でも、それは単に少量生産を繰り返した結果であり、販売数量増加に伴うスケールメリットの恩恵に乏しい特徴がある。

市場拡大再算定の影響試算（自家細胞起源の製品を想定したシミュレーション）

薬価とその構成要素 (括弧内は係数比(%))	再算定前*	再算定後**			
		(再算定率 ▲10%)	(再算定率 ▲15%)	(再算定率 ▲25%)	
製造原価	3,266,255	3,266,255	3,266,255	3,266,255	←販売数量増に伴うスケールメリットが得られない
一般管理販売費	3,948,127	3,948,127	3,948,127	3,948,127	←販売後も費用の増加が無いと仮定
営業利益	1,203,800 (14.3%)	294,709 (3.9%)	-159,837 (-2.3%)	-1,068,927 (-17.4%)	←一度でも市場拡大再算定が適用された場合、 容易に不採算に陥る可能性がある
流通経費	672,727	672,727	672,727	672,727	←オンデマンド生産の個別化製品（自家細胞）であったり、 希少疾病用製品が多く、流通費用低減効果が得られない
消費税	909,091	818,182	772,727	681,818	
薬 価	10,000,000	9,000,000	8,500,000	7,500,000	

(シミュレーションの前提) *2018年に原価計算方式にて算定（各経費は当時の標準的係数にて試算） **2019年：消費増税による薬価改定を経て、現行1000万円/規格単位の価格とした

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OTEK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)。

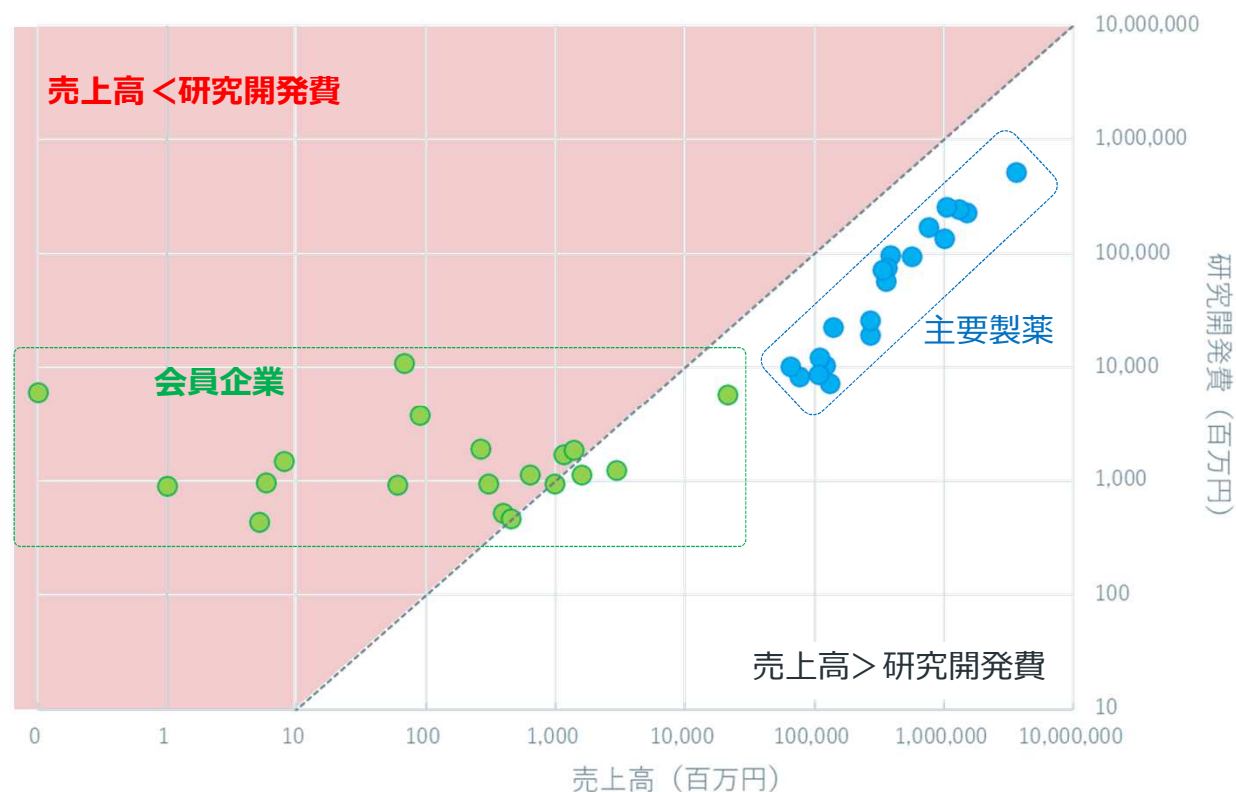
会員企業の経営状況

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	
	協会会	主要製薬	協会会	主要製薬	協会会	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

協会会（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

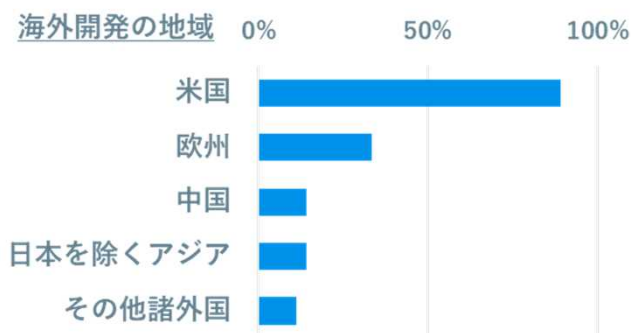
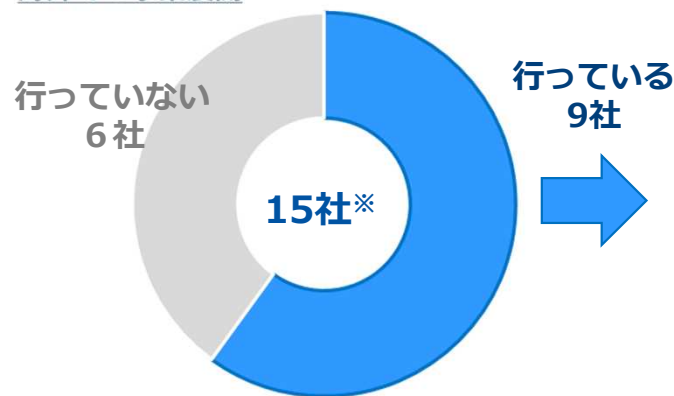


利益がない状況でも研究開発への先行投資を行い、ドラッグ・ラグ/ロス解消に貢献している。

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 両方とも該当	
	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									

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% 中位50%	4pt 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% 中位50%	4pt 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。 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			
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。

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。

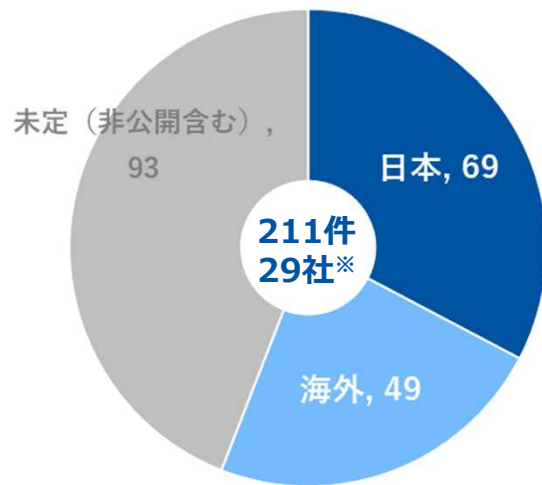
会員企業の開発状況

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）

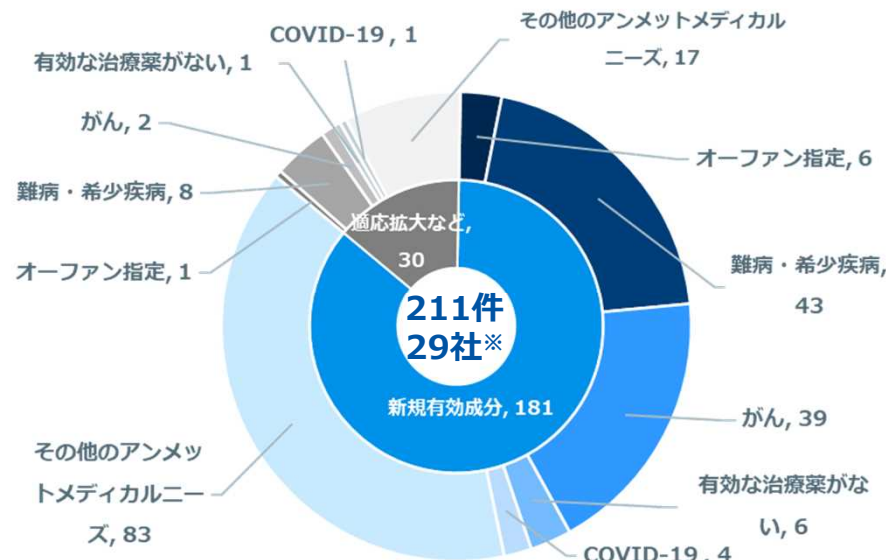
開発地域別のパイプライン数

（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）



「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

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。

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

- 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〕
- 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)

N0.	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品開発	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	声帯癬癢	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

N0.	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	嚢芽腫	非臨床
48	難病・希少疾病	新規	P092	ブリオン病	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	MSC1	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	ナンプランラト	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	ジアセバム点鼻液	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	アフリベルセプト	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	サルグラモスチム	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）

（ $= 3,657^{\text{注1}} \times \text{労働時間}$ ）

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 $\times$ 加算率 $\times$ 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 $\Rightarrow$ 0

※開示度 = （開示が可能な薬価部分） $\div$ （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%

		一般管理販売費率70%	販管費補正+15% (一般管理販売費率 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のか。

(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理解でよいのか。

(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。）にあっては、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 年中医協協議にあるとおり「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、効能効果が変わり、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、日本バイオテック協議会（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。

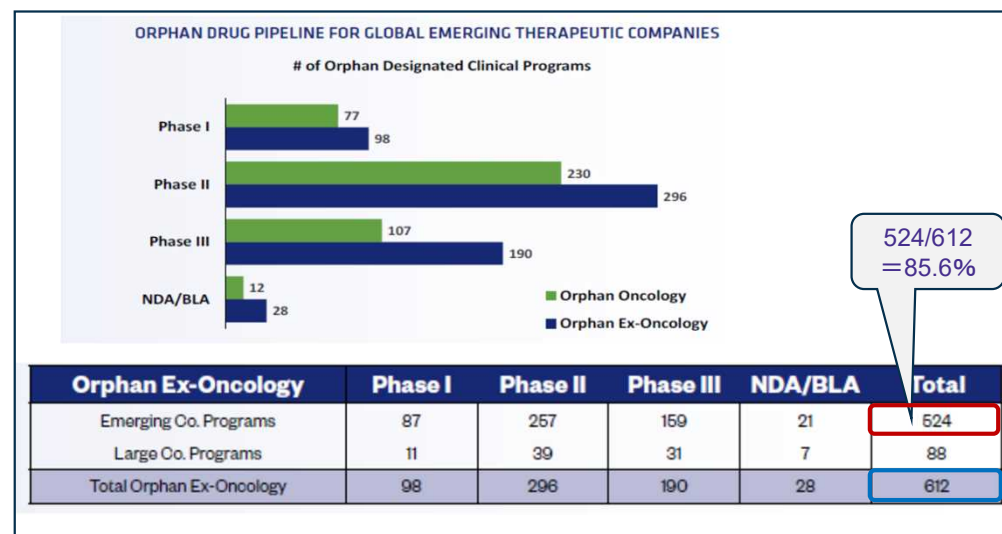
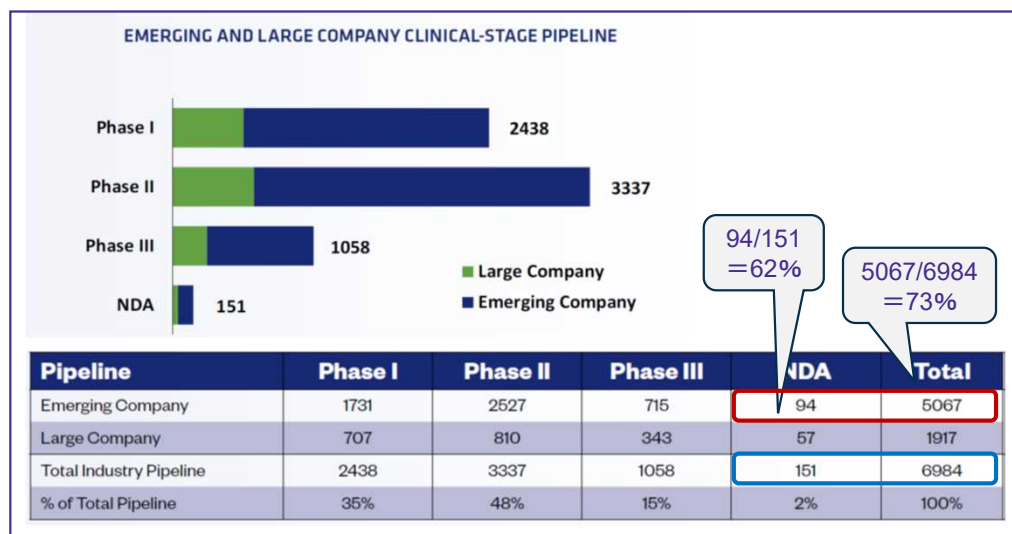


BIOに加盟している「新興企業」について

- 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

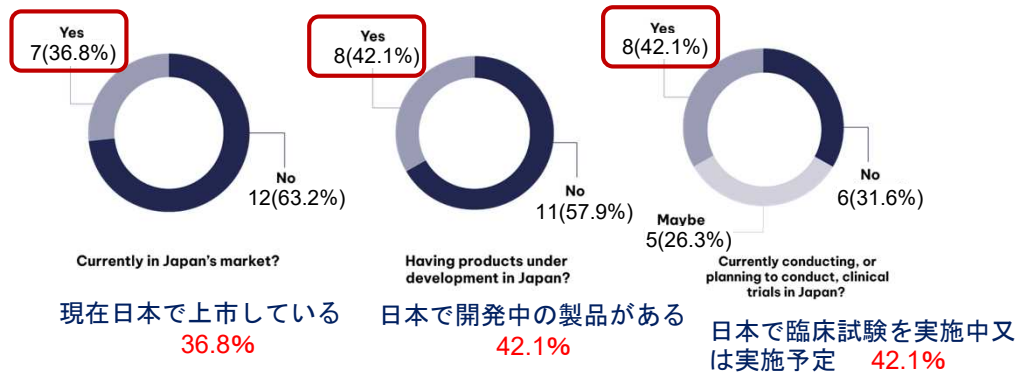
*** 米国食品医薬局 (FDA) に自社の薬剤/新規生物製剤を米国で販売しマーケティング活動をするための承認を得るための申請

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...

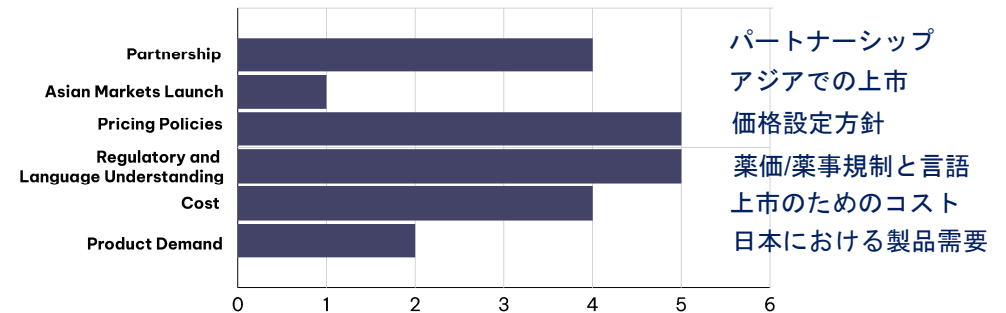
- 価格と投資利益率
- 承認と薬価収載プロセス
- 言語・文化的障壁

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

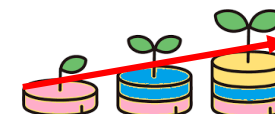
米国拠点新興企業の日本市場に対して感じている課題

日本市場は薬事承認取得後、速やかに薬価が収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。

例) 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。



医薬品開発から
上市にかかる規制

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。

- 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。

上市にかかる提携先

- 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。

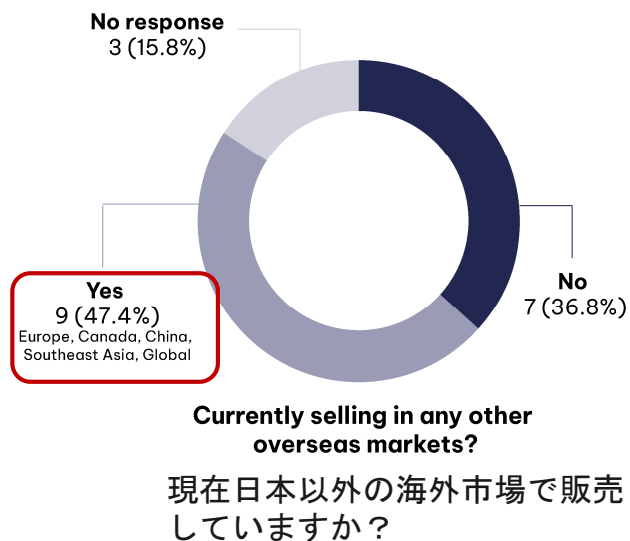
* ITIF：情報技術・イノベーション財団（非営利組織）、2006年に設立されたワシントンD.C.に拠点を置く米国の非営利公共政策シンクタンクで研究教育機関。ペンシルベニア大学はITIFを科学技術政策における卓越性の世界基準を設定したシンクタンクとして、また米国全体のシンクタンクのトップ40の1つとして認めている。

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

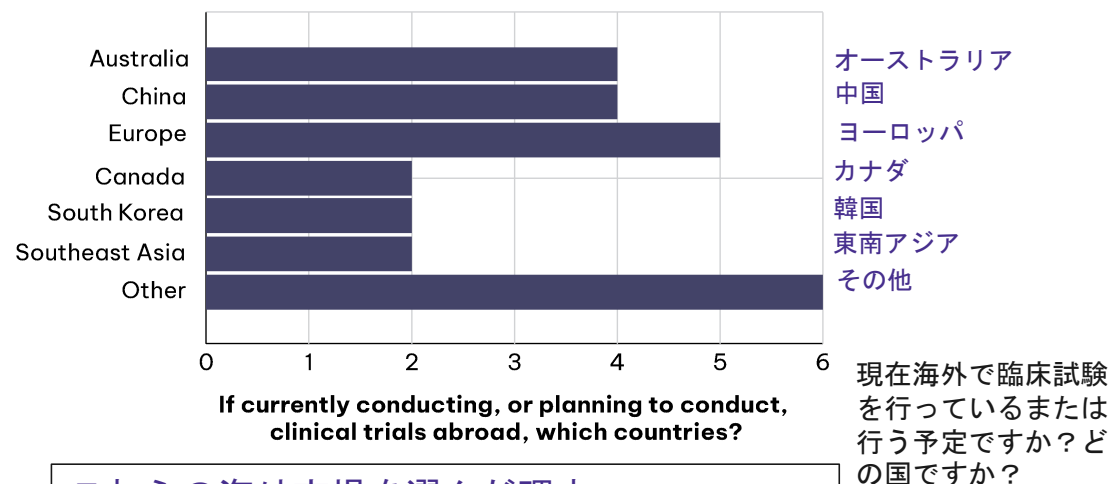


アンケート調査： 日本以外の海外市場で医薬品販売を行っている新興企業

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ーマへの投資および買収を奨励する。

4. 新興バイオフ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。



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



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

中央社会保険医療協議会・薬価専門部会 意見陳述 資料

2023年9月20日



一般社団法人 日本医薬品卸売業連合会

医薬品卸を取り巻く環境の変化

参考:2022年度の医薬品卸の営業利益率:0.8%

薬価改定(6年連続)

出荷調整への
対応

物価高騰・
2024年問題

採用難
・高離職率

単価 ↓

コスト ↑

コスト ↑

担い手 ↓

過去4年度平均市場伸長率*:+0.6%
2022年度薬価改定率**:-6.69%

総労働時間内割合***:19%
年間人件費換算***:548億円
若年層人材の離職への影響大

物価指数****:+3.1%
トラックドライバーの年間時間外
労働時間の上限規制:960時間へ

新卒採用の応募者が減少している
と認識している卸の割合*****:76%
過去一年間に退職(転職)を
検討した従業員の割合*****:55%

公定価格(薬価)においてコスト増加を価格転嫁しにくい制度・政策になっている

出典: *クレコンR&C社データ(医療用医薬品卸売ベース2020年度・2021年度・2022年度)、**厚生労働省発表、***クレコンR&C社による「第2回出荷調整品の対応で医薬品卸企業に発生する追加業務に関する調査」(2022年5月)、****総務省発表 消費者物価指数 全国2023年7月分の生鮮食品を除く総合の前年同月比、*****日本医薬品卸売業連合会による会員構成員企業45社を対象とした「医薬品卸の新卒採用・離職・背景に係るアンケート調査」(2023年9月) ****ヘルスケア産業プラットフォーム(医薬・医療機器・医薬品卸・OTC・化粧品関連労働組合政策推進協議会)による「医薬品卸の退職(転職)実態にかかる緊急調査」(中間報告:8月22日時点の2,740名の回答)

医療用医薬品の単位薬価帯別市場構成

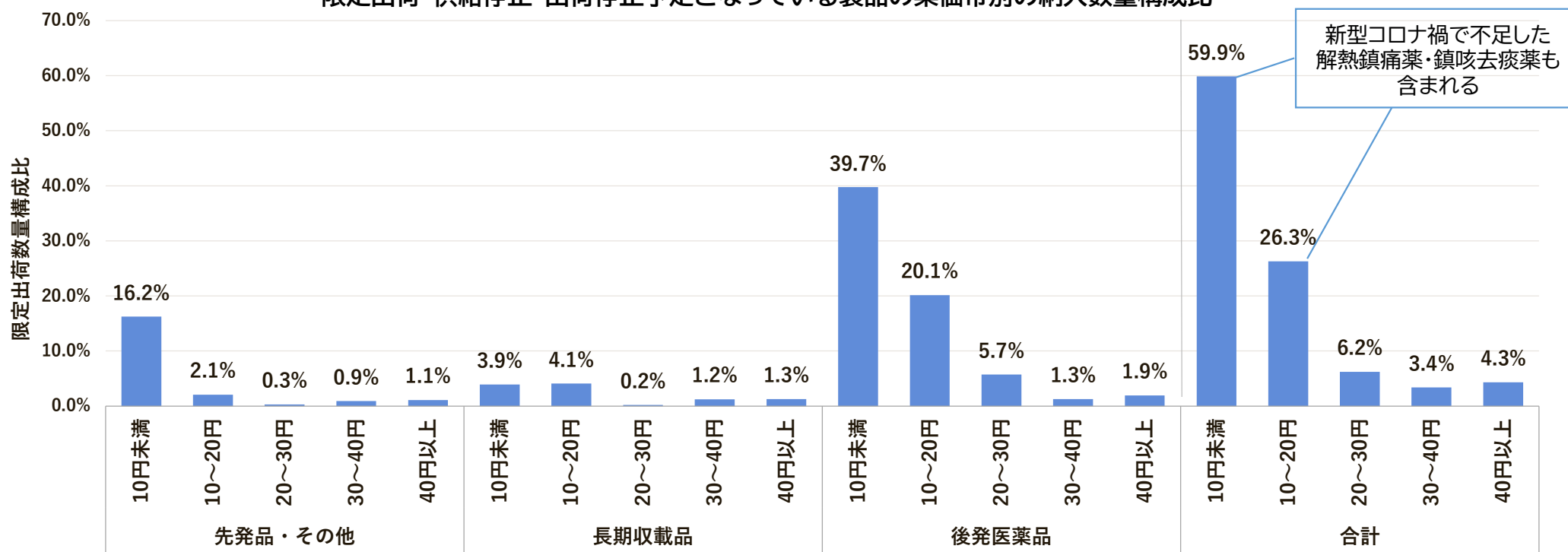
医療用医薬品市場においては、薬価20円未満品の品目数(包装単位別)が49%を占め、金額(薬価ベース)では10%を占めている。

単位薬価	規格容量別品目数 (製品小分類)		包装単位別品目数		流通金額	
					2022年4月～2023年03月 (億円:薬価ベース)	
10円未満	2,865	17%	6,093	20%	4,065	4%
10円以上20円未満	4,261	25%	8,675	29%	5,871	6%
20円以上100円未満	4,994	29%	8,637	29%	14,187	14%
100円以上1000円未満	2,691	16%	3,936	13%	25,948	26%
1000円以上10万円未満	2,119	12%	2,475	8%	33,638	34%
10万円以上100万円未満	232	1%	239	1%	14,437	15%
100万円以上	31	0%	47	0%	1,072	1%
単位薬価なし	2	0%	33	0%	48	0%
総計	17,138	100%	30,135	100%	99,266	100%

単位薬価帯別の出荷調整の数量状況

限定出荷状況を2023年度の単位薬価帯(10円単位)別にみると、10円未満の限定出荷数量が多く、後発医薬品は10円以上～20円未満も限定出荷数量が多い。

日本製薬団体連合会「医薬品供給状況に係る調査(2023年6月)」において
限定出荷・供給停止・出荷停止予定となっている製品の薬価帯別の納入数量構成比



※その他は、昭和42年以前に承認された医薬品、局方品、漢方エキス剤、生薬、生物製剤(ワクチン、血液製剤等)など

出典:日本製薬団体連合会、エンサイス株式会社

安定確保すべき医薬品の医薬品卸に係る流通コストと流通不採算について (基礎的医薬品・安定確保医薬品カテゴリA・B)

安定確保すべき医薬品では納入価格を上回る流通コストが生じており、多くが流通不採算品となっている。

	対納入価 コスト率*	不採算品目の割合*	
		包装単位別 品目数	流通金額
基礎的医薬品	107.3%	77.9%	81.5%
安定確保医薬品 カテゴリA	104.9%	77.8%	73.1%
安定確保医薬品 カテゴリB	102.7%	62.7%	45.4%

医薬品卸の機能	
所有権移転機能	取引先決定、商品選択、価格交渉、取引条件設定、売買契約、代金支払い
リスク負担機能	保有在庫による需給調整
物流機能	仕入、保管、品質管理、小口化、流通加工、取揃え、配送、品質不良品回収
情報伝達機能	販売促進、営業、経営支援、市場調査、販売データ分析
金融機能	債権・債務の管理、回収管理
需給調整機能	欠品や出荷調整の際の需給調整、代替品の確保・提供
有事の際のライフライン機能	災害・パンデミックの際の医薬品の供給確保

*コスト＝売上原価＋販売費及び一般管理費（各社管理会計におけるコスト配賦により算出）

日本医薬品卸売業連合会による医療用医薬品を主に扱う会員構成員企業人事部を対象とした
「医薬品卸の新卒採用・離職・背景に係るアンケート調査」結果
(2023年9月 回答企業45社 医療用医薬品を主に扱う会員構成員企業すべて)

人材難の中でも、特に、将来の流通現場の中核となる若年層人材の確保の厳しさが明らかになっており、
離職においては、出荷調整への対応が大きく影響している。

● 新卒採用状況

	増加傾向にある	どちらとも言えない	減少傾向にある
過去5年間の新卒採用における応募者人数の傾向	0 社	11 社 (24%)	34 社 (76%)

● 離職状況

	増加傾向にある	どちらとも言えない	減少傾向にある
過去5年間の若年層人材の離職者数の傾向	29 社 (64%)	15 社 (33%)	1 社 (3 %)
	大いに影響している	どちらとも言えない	あまり影響していない
若年層人材の離職における出荷調整の業務負担の影響	27 社 (60%)	14 社 (31%)	4 社 (9 %)

ヘルスケア産業プラットフォーム（医薬・医療機器・医薬品卸・OTC・化粧品関連労働組合政策推進協同協議会）

「医薬品卸の退職（転職）実態に係る緊急調査」

（中間報告：8月22日時点の2,740名の回答）

医療提供体制の維持のために使命感を持ってきた医薬品卸の現場担当者も、出口の見えない出荷調整への対応で心身の負担が限界にきている。

	過去1年間に退職（転職）を検討した理由（若手層のコメントを抽出）
20代 男性 営業職	後発品の品切れが多すぎる状態が、もう3年以上続いているにも関わらず、一向に改善が見られず仕事に対するモチベーションが保てなくなっている。
20代 女性 営業職	出荷調整による緻密な在庫管理、毎日の謝罪、メーカーさんの代わりにひどく怒られることも多々あります。本来の営業の仕事ができていなく、精神的な疲労や労力と給料があっていないと強く感じます。
20代 男性 営業職	医薬品業界自体、将来性が無いように感じる人が多い。メーカーと協力して、新規採用に繋がっても、すぐに出荷規制がかけられ、また卸に怒りの矛先が向けられる。
30代 女性 事務職	コールセンター所属です。お客様には謝り続け、会社からは理想ばかりを押し付けられ、かといってサポートやフォローはなく、改善も見られません。苦しいと訴えても寄り添う振りをされるばかりで毎日が苦痛で何も楽しくないです。人としての価値や存在意義が軽視されていると常に感じています。

現状分析と意見

現状分析

- 薬価改定による単価の下落、物価高騰、2024年問題、担い手不足への対応に取り組みながら、これまで医薬品卸は医療提供体制の維持のために、社会インフラとしての役割と使命感をもって尽力してきたが、限定出荷に係る負担は、医薬品の持続的な安定供給の重大なリスクとなっている。
- 医療用医薬品市場において薬価20円未満品の品目数(包装単位別)が49%を占め、金額(薬価ベース)では10%を占める。
- 限定出荷数量の86.2%は薬価20円未満に集中している。
- 安定確保すべき医薬品では納入価格を上回る流通コストが生じており、多くが流通不採算品となっている。このため、今後の供給に支障を生ずるリスクを常に抱えている。

意見

- 2024年度の薬価改定に向けて、流通不採算が持続的に安定供給に与えるリスクの観点を考慮し、薬価20円未満の医薬品・安定確保すべき医薬品の薬価引上げを検討していただきたい。
- 今後の検討に当たっては、これまで当連合会が主張した意見を踏まえていただきたい。
 - 中間年の薬価改定は、廃止の是非も含めて検討し、実施するとしても、少なくとも平均乖離率を上回るものを対象とし、できる限り限定された品目とすべきである。
 - 流通改善の道筋や薬価制度改革の全体像が描けない中で、調整幅だけを議論することは適当ではない。
 - 医療上の必要性が高いとされる医薬品の薬価を下支えする仕組みなど、採算性を維持できるように薬価制度を見直していただきたい。

これまでの主な意見

新薬の収載時における評価 ①

論 点

新薬収載時における現状の補正加算の範囲、その加算率計算のための定量化の手法に関して、イノベーション評価の観点からどのように考えるか。

これまでの主な意見

- 期待に基づく加算は適切ではなく、臨床試験等による実証データ、エビデンスに対する国の評価に基づき加算すべき。
- イノベーション評価の重要性は理解するが、定量化の具体的な方法や、それによる影響が議論に必要。
- 根拠データの拡大について検討するには、どのような視点で価値要素とするのか、どのようなデータを使って客観的に判断するのかなど、関係業界から具体的な事例、データなどを示していただきたい。
- 現在の新薬の状況を踏まえ、有用性系加算において評価されるべき項目が含まれていない場合、そのエビデンスやデータを確認して見直すことが必要。
- 現在の定量化による評価の見直しも含め、ある程度柔軟性を持たせた形に改善していく方向で検討すべき。
- 原価計算方式における原価の開示度の向上は、薬価の透明性の観点からも極めて重要。原価計算方式による算定結果は、類似薬効比較方式で算定される品目の薬価にも影響を及ぼすことから、議論が必要。
- 原価計算方式における原価について、開示できない場合にはどのような事情があるのか。
- 原価計算方式における開示度を向上させるためにインセンティブを与えることは、原価計算方式の本来の目的から逸脱しており、本末転倒。
- 原価計算方式における開示度を向上させるためのインセンティブについて、開示が進むのであれば、検討自体は否定しない。
- 類似薬効比較方式における比較薬の柔軟な選定については、原価の開示が進まないからという論理ではなく、臨床上の位置づけ、あるいは患者の納得性という視点で議論すべき。

※) 下線部は前回部会資料からの追記箇所（以下のページも同様）

新薬の収載時における評価 ②

これまでの主な意見（続き）

【関係業界からの意見】

- 臨床試験における直接比較が前提となっている加算要件について、間接評価を可能とすべき。
- 「患者・家族の社会生活上の有用性」を加算要件とし、有効性の大幅な改善がより高い加算率となるよう見直すべき。根拠データの対象を拡大すべき。
- 評価の観点を拡充すべき。加算率の定量的評価について、現状を踏まえた見直しを行ってはどうか。
- 再生医療等製品の社会的価値を価格に反映すべき。

【薬価算定組織の意見】

- 薬価算定時点において国内ガイドラインで標準的治療法とされていない場合でも、評価の対象としてはどうか。
- 新薬が長期間収載されていない領域における新薬について、何らかの評価を検討してはどうか。
- 有用性の評価について、新たな観定の追加や定量的な評価方法の改善など、評価のあり方について見直しを行うべきではないか。
- イノベーションの評価は重要だが、承認から薬価収載までの期間を維持しつつデータの妥当性を判断するため、評価のあり方及び体制については慎重に検討する必要がある。収載時に評価が困難なものについては、収載後に評価することも考慮すべき。
- 原価計算方式における透明性を高める観点から、データの集計結果を踏まえ、移転価格として日本に導入される品目については、原価計算方式での算定において、営業利益率を平均的な営業利益率より限定的な範囲で適用することとしてはどうか。なお、新たなドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの原因とならないよう最大限配慮するとともに、現時点では集積されたデータが限られていることも考慮すべきである。
- 開示度の向上を一層促すために、開示度が相当程度高い品目については、インセンティブとして何らかの評価を検討してはどうか。
- 類似薬効比較方式による算定を一層進めるため、比較薬の選定をこれまでより柔軟に行うこととしてはどうか。

新薬創出・適応外薬解消等促進加算

論 点

現在の新薬創出等加算に関して、新薬開発企業の研究開発促進や未承認・適用外薬の解消の観点から、品目要件・企業要件の考え方について、どのように考えるか。

これまでの主な意見

- 未承認薬・適応外薬の開発の観点で対応できていない企業まで加算対象としたために、平成30年度に抜本的な見直しをした経緯があることに留意し、ドラッグ・ラグ/ロスを役立つという前提を堅持する中で、見直しを検討すべき。
- 薬価が維持されにくいのは乖離率が大きいためであり、薬価調査結果を無視してまで薬価を維持すべきではない。
- 新薬の特許期間中の薬価の維持は必要だが、メリハリが必要。業界が考える優先度などの意見を聞きたい。
- 業界が提案している品目要件のネガティブリスト方式は、項目の精査は必要だが、考慮しうる手法。
- 経済環境が厳しいという主張の一方で、仕切り価率が低下しているものがあることについては、その理由が不明であることも踏まえて慎重に議論すべき。
- 企業要件については、ベンチャー企業が不利にならないような形で見直すべき。

【関係業界の主な意見】

- 革新的新薬は実勢価改定から除外すべき。
- 品目要件はネガティブリスト方式とし、企業要件・企業指標は廃止すべき。

【薬価算定組織の意見】

- 小児適応の開発に関して特に評価すべき品目については、加算の対象としてはどうか。
- 薬理作用類似薬に関する品目要件（収載から3年・3番手以内）について、合理化してはどうか。

ドラッグ・ラグ／ロスの解消、日本への早期導入に関する評価

論 点

ドラッグ・ラグ／ロスの解消、日本への早期開発を促すために、薬価の観点から対応する方策に関してどのように考えるか。

これまでの主な意見

- ドラッグ・ラグ／ロスは医療現場においても大きな課題だが、その原因と解決策について十分な分析がされていない。深掘りできるデータに基づいての議論が必要。
- 国内未承認薬ののうち必要性が高いにも関わらず導入されていない新薬は、どのようなものがあるのか。課題とともに、具体的な医薬品等のデータを示していただきたい。
- 日本での上市を延期／中止した医薬品があるとのことだが、最終的に上市したものも含め、具体的にどのようなカテゴリーの医薬品があって、具体的にどんな課題だったのか。
- ドラッグ・ラグ／ロスは、研究開発段階の要素が大きいので、その見直しが先決であり、公的医療保険の財源で手当すべきものではない。米国の薬価設定は、米国でも問題になっている。
- 迅速導入の評価は必要だが、その必要性や効果について、業界から意見やデータの提示が必要。
- 小児用医薬品は収益が見込めず手をつけにくい領域であり、現行の加算制度では開発コストを回収できない。【専門委員】

【関係業界の主な意見】

- 革新的な医薬品を国内に迅速に導入した場合には、薬価上の評価を行うべき。
- 先駆的医薬品や適切な比較薬がない新薬、参照可能な外国価格がない新薬などについて、欧米並みの薬価水準とすべき。

新薬の薬価改定時の加算

論 点

薬価改定時における現状の補正加算の範囲及び算定方法、その評価に用いるデータと評価方法に関して、イノベーション評価の観点からどのように考えるか。

これまでの主な意見

- 加算実績を見ると低い加算率が適用されているものが大部分であり、然るべき場合は、現行ルールの範囲内で、もう少し高めの加算率を適用するなどの運用を検討しても良いのではないか。
- イノベーションの評価やメリハリの観点から、加算率の幅を広げることも一案。
- 併算定不可の項目については、評価をしても良いが、全ての場合に併算定可能にするかどうかは議論が必要。
- 真の臨床的有用性の検証について、評価の対象となるデータ・エビデンスの拡充が関係業界から要望されているが、具体的なデータ・エビデンスについて、具体的な品目の例なども含めて業界側から詳細な説明をいただきたい。
- 効能追加や新たなエビデンスによって医療現場で評価されること自体が、企業の利益増につながる。評価の見直しに当たっては、市場規模と医療保険財政への影響を踏まえて議論する必要がある。
- 真の臨床的有用性を証明すること自体、非常にハードルの高いものであり、加算による評価が必要。【専門委員】

【関係業界の主な意見】

- 評価対象となるデータ・エビデンス範囲を拡大すべき。効能追加を行った場合の加算の適否や併算定などを見直しすべき。
- 上市時点では証明が難しい再生医療等製品の価値について、上市後に反映できる仕組みを設けるべき。

【薬価算定組織の意見】

- 複数の効能追加がなされた場合には、追加された効能ごとに加算の該当性を判断し、加算の併算定を認めてはどうか。
- 薬価改定時の加算と新薬創出等加算の適用方法を見直してはどうか。

収載後の価格調整（市場拡大再算定など）

論 点

市場拡大再算定、効能変化再算定、用法用量変化再算定について、再算定が公的保険制度における薬剤費の適切な配分メカニズムとして機能していることも踏まえ、新薬のイノベーション推進や企業の予見性確保の観点から、収載時の予測からの市場規模の拡大状況を含めた再算定対象品の考え方、類似品の取扱い、補正加算の範囲等を含めた再算定のあり方についてどのように考えるか。

これまでの主な意見

- 公的保険制度における薬剤費の適正な配分メカニズムとしての機能を失わないよう、丁寧な議論が必要。
- 再算定における補正加算については、再算定による引下げ幅を緩和するという意味合いもあり、特に医療上の必要性の高い効能を追加したことで再算定の対象となる場合には、追加された効能の価値は評価されるべき。
- 市場拡大再算定類似品の扱いについては、市場拡大再算定の全体の考え方を整理する中で判断すべき。
- 高額医薬品として検討した薬剤については、薬剤の特徴を踏まえて収載後の価格調整を行うこととしたところであり、このようなきめ細やかな判断がどこまで可能であるのかという点も含め検討すべき。
- 前回の薬価制度改革で特例拡大再算定から4年間は1回に限り類似品から除外する取扱いになったばかりであり、この影響について検証も行われていない中でさらに踏み込むことは難しいのではないかと。
- 市場拡大再算定類似薬の取扱いは、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趣旨であり、慎重に検討すべき。

【関係業界の主な意見】

- 他社品目の市場拡大に伴う類似薬としての再算定は撤廃すべき。
- 有用性が高い効能を追加した場合には、再算定の引下げ率を緩和すべき。累次の再算定に伴う累積引き下げ率の上限を設けるべき。
- 追加効能の市場規模が小さい場合などは、使用実態の著しい変化とせず、再算定の対象から除外すべき。

【薬価算定組織の意見】

- 市場拡大再算定類似品の取扱いを見直すとともに、収載時の薬価算定方式によらず同様に取り扱うこととしてはどうか。
- 臨床上有用な効能追加を評価する観点から、例えば、収載時に有用性系加算に該当する効能追加については、再算定における補正加算の対象としてはどうか。

後発品の薬価（収載時の価格、改定時の価格帯など）

論 点

後発品の収載時薬価及び収載後の価格帯集約のあり方について、どのように考えるか。

これまでの主な意見

- 多数の後発品が同時に上市される事例が依然としてあり、収載時薬価の適正化も考えるべきではないか。
- 価格帯を増やす方向の見直しは慎重に検討すべき。価格帯を極力増やさない前提で、業界からもう少し具体的な提案があれば検討を進めやすい。
- バイオ後続品については、2029年度末までに数量ベースで80%以上の成分数を60%以上とする目標を踏まえ、品目や薬価差が分かるデータを基に検討すべき。併せて、バイオAGについても議論が必要。

【関係業界の主な意見】

- 安定供給されている品目については、市場実勢価格が個別銘柄ごとに反映されるべき。

長期収載品に係る薬価改定ルール

論 点

我が国の製薬産業について、長期収載品に依存するモデルから、より高い創薬力を持つ産業構造に転換する方針の中で、長期収載品から後発品への置換えを迅速に進める観点から、長期収載品の薬価のあり方について、どのように考えるか。

これまでの主な意見

- 後発品への置換え期間経過後は早期に長期収載品と後発品の価格差がなくなるよう、G1／G2ルールを見直すべき。
- 後発品の安定供給が確保されておらず、品目によっては長期収載品に頼らざるを得ない現状において、安定供給の観点からどの長期収載品が医療に貢献しているのかをどのように判断するのか。
- G1／G2ルールが当初想定した効果を発揮しているのか、データがあれば提示していただきたい。
- 長年使用され、医療現場の判断で代替できる製品があるものについては生産終了とすることで、製造所のライン確保ができるのではないか。医療現場や関係団体、企業とも協力しつつ、後発品の品目数などの在り方も含め、何らかの対応ができないか。

【関係業界の主な意見】

- G1品目（後発品置換え率80%以上）について、増産対応を行う後発企業が現れることは稀であり、薬価は引き下げられつつも撤退が認められず供給継続が求められることになる。撤退を希望しても撤退できない場合には、薬価の引下げを行わず、一定の価格差を許容すべき。

薬価の下支え制度・安定供給が確保できる企業の考え方

論 点

後発品等の安定供給に係る現状を踏まえ、企業における製造体制等の確保の必要性や、少量多品目生産といった構造的課題の解消が指摘されている観点等から、価格の下支え制度や安定供給が確保できる企業の考え方を含め、後発品等の薬価のあり方についてどのように考えるか。

これまでの主な意見

- 薬価の下支えは重要だが、メリハリが必要。安定確保医薬品については、その趣旨から薬価の下支えの対象となり得るが、カテゴリB・Cは品目数も多いので品目精査など整理が必要。その上で、基礎的医薬品との関係性を整理すべき。局方品も保健医療上重要な医薬品が収載されているので整理が必要。また、総価取引をなくすなどの流通改善を一層進めることが大前提。
- 薬価の下支え制度は、安定供給の確保ができる企業が供給している医薬品を優先的に評価していくことも一案。
- 最低薬価が設定されていない剤形に最低薬価を設定することも一案だが、具体的な価格の妥当性について業界から説明が必要。
- 最低薬価は剤形だけの取扱いであり、医療上の必要性や乖離率は要件ではないので、どのように薬価の下支えを進めることが適切なのか、現在の最低薬価が安定供給可能な価格であるかも含め、製造原価の変動状況等のデータに基づき検討すべき。
- 前回の薬価改定で臨時・特例的に実施した不採算品再算定の適用品目について、仕切価率のデータを見る限りでは、前回の薬価改定の意図が適切に反映されていないと言わざるを得ない。
- 不採算品再算定を受けた品目について、過度な値引きの対象になっていないかどうか、実態を確認すべき。
- 医薬品の安定供給の問題は医薬品業界の構造的な課題に端を発するものであり、診療報酬上の評価では根本的な解決にはつながらない。安定供給の実現には、後発医薬品業界全体の産業構造の見直しが必要。
- 安定供給について薬価のみで解決することは難しく、サプライチェーン強化といった総合的な対策が必要。

【関係業界の主な意見】

- 薬価を下支えする仕組みの充実が必要であり、基礎的医薬品の対象の拡充、不採算品再算定の柔軟な適用など見直すべき。
- 原材料等の物価高騰等は依然として継続しており、適時薬価を引き上げる仕組みが必要。

医薬品流通に関する課題

論 点

今回示した医薬品流通の課題に関して、どのように考えるか。調整幅の在り方が継続検討事項とされ、過度な薬価差の偏在に関する課題も指摘されているが、流改懇において流通に係るこれらの課題について検討が行われることから、これらの関係会議での議論や薬価差の実態に関するデータ等も踏まえつつ、検討を進めることとしてはどうか。

これまでの主な意見

- 今後の医薬品産業構造の在り方にも関わる話であるため、まずは関係会議において先に議論すべき。
- 調整幅は薬剤流通の安定のためのものだが、薬価改定の影響を緩和する仕組みとしても重要な役割を担っている。調整幅が2%に設定された当時と比べ、流通コストや管理コストが増加しているほか、毎年の薬価改定や供給問題等の影響もあり、調整幅は一層重要となっている。流通体系の崩壊を招く可能性があるため、現時点では調整幅を見直すべきではなく、サプライチェーンの状況等を把握しつつ、流通全体の課題も含め慎重に議論すべき。
- 薬価差の実態については、関係会議でも指摘されているとおり、より詳細なデータが必要。
- 進め方に異論はないが、調整幅が一律2%に固定されていることは疑問。また、市場実勢価格を反映するという観点で、乖離率だけではなく乖離額も考慮すべき。
- 調整幅については、後発品業界の産業構造等の根本的な課題への対応について整理したうえで議論すべき。

【関係業界の主な意見】

- 調整幅は、すべての流通当事者にとって重要な役割を果たしており、調整幅の引下げは医薬品の継続的な安定供給にとって重大なリスクとなっている。

診療報酬改定がない年の薬価改定

論 点

診療報酬改定がない年の薬価改定について、どのように考えるか。

これまでの主な意見

- 薬価改定は診療報酬改定と同時期に行うことが基本であり、過去2回の中間年改定が医薬品の安定供給やドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス等に与えた影響なども検証しつつ、検討を重ねるべき。
- 中間年改定により薬価が加速度的に下落し、製薬企業、卸、薬局・医療機関の経営に大きなダメージを与えている。関係者への影響や昨今の物価・賃金の高騰、医薬品の供給問題の影響などを踏まえ、対象範囲や実施の是非を含めて慎重に検討すべき。
- 本年度は次期薬価制度改革の議論を最優先で行うべきであり、その次の中間年改定の議論まで行うことは難しいのではないか。
- 中間年改定は国民負担軽減が最大の目的。新薬創出等加算の累積額控除については、後発品の収載時期によって大きなタイムラグが生じるため、最低限、毎年行うべきではないか。さらに、後発品の新規収載時の薬価が累積額控除後の価格を基に決まることを踏まれば、年2回の後発品の薬価収載と同時に累積額を控除してはどうか。
- 令和5年度薬価改定で既収載品の外国平均価格調整が新たに実施されたことを踏まれば、他の算定ルールについても原則として全て適用することを検討すべき。
- 中間年改定については、後発品業界の産業構造等の根本的な課題について議論する中で課題や改善策が見えてくると考えるため、関係会議での議論を踏まえ、中医協で議論すべき。

【関係業界の主な意見】

- 毎年改定により加速度的に薬価が低下することが、日本市場の魅力の低下、早期の採算性悪化につながり、革新的医薬品の早期アクセスや医療上必要性の高い医薬品の供給に影響を及ぼしている。

高額医薬品（感染症治療薬）に対する対応

論 点

「高額医薬品（感染症治療薬）に対する対応について」において検討課題とされている薬価算定方法等に関して、どのように考えるか。新薬に関する検討課題であるため、個別品目（ゾコーバ錠）の本承認や再算定等の状況も踏まえつつ、秋以降に議論される新薬の課題の際にあわせて議論することとしてはどうか。（なお、個別品目に関しては、当該品目の承認等の状況を踏まえ、別途議論することとする。）

これまでの主な意見

- 個別品目であるゾコーバ錠の本承認や再算定等の状況も踏まえ、秋以降の新薬の議論の際に併せて検討するのが良い。
- 特例的な対応であることを踏まえれば、本承認や有効性についてのデータを踏まえて検討すべき。
- 医療保険財政の持続性という観点から、今後も、従前の方法では対応困難となるような巨額の製品を薬価収載する際には、中医協で議論してから薬価算定組織で薬価算定すべき。

その他の意見

これまでの主な意見

<総論>

- 今回、薬価制度の抜本的な見直しを行うには時間が足りないので、現行制度を前提とした上で、どのようなことができるか、議論すべき。
- その年々の改定議論に追われ、中長期的な議論が後回しにならないように、今回の議論の中で、中長期的な課題についても整理して、今後の議論につなげていく必要がある。
- 制度を見直す際には、その制度が創設された趣旨や目的、創設当時からの状況変化や新たな課題、変更により想定される効果・影響、制度全体での整合性、財政影響等を踏まえて判断すべき。

<物価高騰等>

- 物価高騰等については、調達コストの上昇が薬価の中でどれだけウエートを占めているのかといった具体的なデータがないと影響の大きさが分からない。影響の大きさが分かるデータを提示していただきたい。
- 長いデフレの間に、原材料コストがどう推移してきたのか。直近の状況だけを捉えての判断は難しいので、長期トレンドをデータで示していただきたい。

<その他>

- 薬価が下がるそもそもの理由は、薬価よりも卸の納品価格が低いからであり、どのような制度であっても、薬価差は国民に還元すべき。
- 調整幅について、取引の実態が分かるデータをお示しいただきたい。
- 卸連の資料において、人材確保難に関して従業員数とMS数の減少傾向を示すグラフがあるが、その他のリスクについて、より詳しい資料・実情を示していただきたい。
- 開発段階からの薬価相談については、将来の薬価制度が、中医協における議論とは関係なく、国と企業との相談によって決定される懸念がある。

【薬価算定組織の意見】

- 薬価算定は臨床試験成績や薬事承認の内容等を踏まえて行う必要があるが、臨床試験計画等を検討する際に薬価算定における評価の視点も含めて相談が可能となれば薬価算定の予見性を高めることにもつながることから、将来的な課題として、開発の段階から薬価算定に関する相談を受けることのできる枠組みを検討してもよいのではないか。

令和6年度薬価改定に向けた検討（全体スケジュール）

