

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第214回） 議事次第

令和5年11月10日（金）診療報酬改定結果検証部会終了後～

議 題

○令和6年度薬価改定について

令和 6 年度薬価改定について ⑨

～ 新薬、基礎的医薬品 ～

令和6年度薬価改定に向けた検討（全体スケジュール）

7月～9月頃

各論（課題整理）

7月12日 新薬その1

- 収載時における評価
- 新薬創出等加算
- 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

7月26日 新薬その2

- 薬価改定時の加算
- 市場拡大再算定等

8月2日 後発品・長期収載品

- 後発品の薬価
- 長期収載品に係る薬価改定ルール
- 価格の下支え制度
- 安定供給が確保できる企業の考え方

8月30日 その他の課題

- 医薬品流通に関する課題
- 診療報酬改定がない年の薬価改定
- 高額医薬品（感染症治療薬）に対する対応

薬価算定組織の意見（8月23日）

10月～11月頃

各論（対応の方向性）

新薬

10月18日

- 新薬創出等加算

10月20日

- 日本への早期導入に関する評価
- 小児用の医薬品に関する評価
- 有用性系加算の評価

11月10日

- 日本への早期導入に関する評価
- 補正加算の評価（定量化、加算率）

長期収載品

後発品等

10月27日

- 安定供給が確保できる企業の考え方

11月10日

- 基礎的医薬品

その他

関係業界からの意見聴取（9月20日）

12月頃

骨子とりまとめに向けた議論

検討開始（6月21日）

関係業界からの意見聴取（7月5日）

1. 新薬

- ・ 研究班からの報告（資料 薬 - 2）
- ・ 日本への早期導入に関する評価
- ・ 補正加算の評価（定量化、加算率）

厚生労働行政推進調査事業費補助金における研究


有識者検討会での指摘を踏まえ、医薬品の安定供給等に係る企業体制（製造能力、生産計画、生産実績等）の評価に関する研究が進められている。

●適切な医薬品開発環境・安定供給及び流通環境の維持・向上に関する研究【令和4年度～令和6年度】

（研究代表者：成川 衛（北里大学 薬学部 臨床医学（医薬開発学））

【背景・目的】

- 国外での製造上のトラブルに起因した一部抗菌薬の供給不安問題
- 新型コロナウイルス感染拡大を背景とした医薬品の変則的な購買行動
- 後発医薬品のさらなる使用促進を支えるための安定的な供給体制の確保
- 新規モダリティ製品を含めたドラッグラグ問題の再燃への懸念

 我が国における医薬品の適切な開発環境、安定供給及び流通環境の維持・向上を目的として、医薬品の上市及びその後の安定供給の推進における障壁を調査・分析し、薬価制度を含めた対策を提言する

【方法】

（１） 医薬品の安定供給の強化に係る研究

- ✓ 主として後発医薬品を対象
- ✓ 供給不安を起こしていない企業・医薬品における対応や工夫を網羅的に調査
- ✓ 安定供給を強化するための薬価上の評価を提案

（２） 新薬の開発及び上市環境の改善に係る研究

- ✓ 新規モダリティを含む新薬の開発・承認状況を調査し、ドラッグラグを分析
- ✓ イノベーションの評価、製造における原料価格変動の考慮などについて海外事例を調査
- ✓ 新薬の安定的な開発・上市を維持するための薬価制度上の考慮事項を整理

新薬の薬価算定ルールに関する検討事項の提案（中間報告）

1. 医療上の必要性が高い革新的新薬の早期導入インセンティブ
 - 革新的新薬の迅速導入加算
 - 薬価収載後の外国平均価格調整（引上げ調整）
2. 創薬モダリティの変化への対応、医薬品の多面的な価値の評価
 - 有用性系加算率の算出ポイントの見直し
3. その他補正加算の加算率のメリハリ
 - 市場性加算、小児加算などについて、加算率の幅の中でも大きな率を適用するケースの例示
 - 薬価算定組織の認定に基づく加算項目の積極的な適用

⇒ 研究班の検討事項の提案（中間報告）を踏まえ、新薬の日本への早期導入に係る評価、補正加算（定量化、加算率）に関して次ページ以降で整理した。

1. 新薬

- ・ 研究班からの報告（資料 薬 - 2）
- ・ 日本への早期導入に関する評価
- ・ 補正加算の評価（定量化、加算率）

これまでの主な意見

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

- 早期導入に係る課題をどのように捉えるのか、新薬の評価に関する他の論点も踏まえ、全体的な視点から検討すべき。
- 早期導入に係る評価を全ての新薬に適用することに価値があるのか疑問がある。一定の要件を課すことが必要。
- 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。
- 外国平均価格調整において引上げを適用することについて、既に使用されている医薬品の外国価格が高いという理由だけで、収載後に薬価を上げることは、患者の理解は得られにくい。
- 外国平均価格調整において引上げを適用する場合は、限定的な範囲に適用して様子を見る等慎重に検討すべき。引上げが適用され得る医薬品の具体を示していただきたい。
- 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。
- 先駆加算の評価を充実させるとともに、欧米に遅れることなく上市される品目についても先駆加算に準じた加算を設けるべき。
- 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、及びその予定価格を確認し、妥当性が認められる場合には価格調整を行うべき。

日本への早期導入に関する評価

分析方法

- 平成30年11月～令和4年11月の4年間に薬価収載された新薬（314成分）のうち、
 - ① 優先審査対象であったもの
 - ② 国際的な開発が進行中であって、米国・欧州に先立って承認されたか、米国・欧州いずれか早い方との申請時期の差が6か月以内の品目を満たす品目の分析と、これらの品目の外国価格も併せて調査（研究班の調査をもとに事務局で分析）

結果概要

- 上記の条件を満たす品目は19成分（6%）であった。

<品目の分析>

- 19成分のうち、有用性系加算が付与されたものは14成分、市場性加算の対象品目は7成分、先駆加算の対象品目※は6成分、新薬創出等加算の対象品目は18成分、希少疾病用医薬品は16成分、国際共同治験が実施されたものは16成分であった。

※ 先駆け審査指定制度加算など、旧称における対象品目を含む

<外国平均価格調整>

- 19成分のうち、薬価収載時に参照可能な外国価格が1か国以下であったものは18成分。
- 上記18成分のうち、令和5年9月時点で2か国以上の外国価格が参照可能となったものは12成分。
- これらについて、収載時の外国平均価格調整のルールと同様の算式により試算を行ったところ、価格引上げになったものは5成分（2%）、引下げになったものは1成分であった。

【参考】薬価収載後に外国平均価格が参照できるようになった品目

	薬効分類	算定方式	有用性系 加算	市場性 加算	先駆 加算	新創 加算	希少 疾病用 医薬品	米国	英国	独国	仏国	外国平均 価格比※1	価格調整 (試算) ※1
1	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=5%	—	○ A=10%	○	○	—	○	○	○	0.616	1.15倍
2	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=5%	—	—	○	—	—	○	○	○	0.967	(調整無し)
3	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (II)	—	—	—	—	—	—	○	○	—	0.259	(調整無し) ※2
4	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=10%	—	○ A=10%	○	○	—	○	○	—	0.815	(調整無し)
5	その他の生物 学的製剤	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=10%	—	—	○	○	○	○	○	○	0.987	(調整無し)
6	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=5%	—	—	○	—	○	○	○	—	0.438	1.47倍
7	酵素製剤	類似薬効 (I)	—	—	—	○	○	○	○	○	—	0.947	(調整無し)
8	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (I) A=35%	○ A=10%	—	○	○	—	○	○	—	0.743	1.01倍
9	その他の生物 学的製剤	原価計算	○ 有用性 (II) A=5%	○ A=10%	—	○	○	○	○	—	—	0.422	1.52倍
10	その他の腫瘍 用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=10%	—	—	○	○	—	○	○	○	0.390	1.62倍
11	酵素製剤	原価計算	○ 有用性 (II) A=10%	○ A=10%	○ A=10%	○	○	○	○	—	—	1.310	0.97倍
12	その他の生物 学的製剤	原価計算	○ 有用性 (II) A=5%	○ A=10%	—	○	○	○	—	○	—	1.017	(調整無し)

※1 規格が複数ある薬剤は、特定の規格を用いて試算した。

※2 類似薬効比較方式 (II) で算定した品目は、現行のルールにおいて薬価収載時の外国平均価格調整の対象外とされている。

【参考】薬価収載時に外国平均価格が参照できなかった品目 (薬価収載後に参照できるようになった品目を除く)

	薬効分類	算定方式	有用性系加算	市場性加算	先駆加算	新創加算	希少疾病用医薬品	米国	英国	独国	仏国	外国平均価格比	価格調整(試算)
1	その他の腫瘍用薬	類似薬効 (I)	—	—	—	○	○	—	—	—	—	—	—
2	その他の腫瘍用薬	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=5%	—	○ A=10%	○	○	—	—	—	—	—	—
3	その他の神経系及び感覚器官用医薬品	原価計算	—	○ A=10%	○ A=10%	○	○	—	—	—	—	—	—
4	他に分類されない代謝性医薬品	類似薬効 (I)	○ 有用性 (II) A=5%	—	—	○	○	—	○*	○*	—	—	—
5	その他の腫瘍薬	類似薬効 (I)	—	—	—	○	○	—	—	—	○	—	—
6	その他の生物学的製剤	原価計算	○ 有用性 (I) A=35%	○ A=10%	—	○	○	—	—	—	—	—	—
7	その他のアレルギー用薬	原価計算	○ 有用性 (II) A=5%	○ A=10%	○ A=10%	○	○	—	○	—	—	—	—

※薬価収載時点で参照可能である外国価格が2か国以上あったものの、薬理作用類似薬があったため、外国平均価格調整の対象外と判断された。

承認審査制度における優先審査の規定

○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（昭和35年法律第145号）

第十四条 医薬品（厚生労働大臣が基準を定めて指定する医薬品を除く。）、医薬部外品（厚生労働大臣が基準を定めて指定する医薬部外品を除く。）又は厚生労働大臣の指定する成分を含有する化粧品の製造販売をしようとする者は、品目ごとにその製造販売についての厚生労働大臣の承認を受けなければならない。

10 厚生労働大臣は、第一項の承認の申請に係る医薬品が、**希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるもの**であるときは、当該医薬品についての第二項第三号の規定による審査又は第七項若しくは前項の規定による調査を、他の医薬品の審査又は調査に優先して行うことができる。

○優先審査等の取扱いについて

（令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第1号・薬生機審発0831第1号 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長、同医療機器審査管理課長通知）

第1 優先審査に関する事項

1 優先審査の対象品目

改正法による改正後の医薬品、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（昭和35年法律第145号。）第14条第8項、第23条の2の5第10項及び第23条の25第7項の規定により優先的に審査を行うことができる医薬品、医療機器又は再生医療等製品とは、次に掲げる医薬品、医療機器又は再生医療等製品であること。

- (1) 希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品（以下「希少疾病用医薬品等」という。）
- (2) 先駆け審査指定医薬品、先駆け審査指定医療機器又は先駆け審査指定再生医療等製品（以下「先駆け審査指定医薬品等」という。）
- (3) 先駆的医薬品、先駆的医療機器又は先駆的再生医療等製品（以下「先駆的医薬品等」という。）
- (4) 特定用途医薬品、特定用途医療機器又は特定用途再生医療等製品（以下「特定用途医薬品等」という。）
- (5) **次のいずれの要件にも該当する新医薬品、新医療機器又は新再生医療等製品**
 - ア **適用疾病が重篤**であると認められること。
 - イ **既存の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品又は治療方法と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れている**と認められること。

⇒ 承認申請から承認までの標準的事務処理期間は、通常の新医薬品は12か月、優先審査品目は9か月、先駆的医薬品は6か月とされている。

優先審査品目と薬価における補正加算との関係

- 優先審査となった医薬品は、区分によっては自動的に加算の対象となる分類もあるが、優先審査の指定を受けただけでは評価されないものもある。（なお、いずれの区分も有用性系加算への該当性は個別に判断される）

<優先審査の対象品目>

- (1) 希少疾病用医薬品 → **市場性加算（I：10～20%）**
- (2) 先駆的医薬品 → **先駆加算（10～20%）**
- (3) 特定用途医薬品 → **特定用途加算（5～20%）**
- (4) 次のいずれの要件にも該当する新医薬品 → **直接薬価上の加算に該当する項目なし**
 - ア 適用疾病が重篤であると認められること。
 - イ 既存の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品又は治療方法と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められること。

補正加算

画期性加算（70～120％）

次の要件を**全て満たす**新規収載品

- イ **臨床上有用な新規の作用機序**を有すること。
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、**高い有効性又は安全性**を有することが、客観的に示されていること
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の**治療方法の改善**が客観的に示されていること

有用性加算（Ⅰ）（35～60％）

画期性加算の**3要件のうち2つの要件を満たす**新規収載品

有用性加算（Ⅱ）（5～30％）

次の**いずれかの要件を満たす**新規収載品 ※イ～ハは画期性加算の要件と同じ

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること
- ニ **製剤における工夫**により、類似薬又は既存治療に比して、**高い医療上の有用性**を有することが、客観的に示されていること

満たした要件の数によって判断

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

市場性加算（Ⅰ）（10～20％）

次の要件を全て満たす新規収載品

- イ **希少疾病用医薬品**であって、対象となる疾病等に係る効能効果が、主たる効能効果であること
- ロ 比較薬が市場性加算（Ⅰ）の適用を受けていないこと

市場性加算（Ⅱ）（5％）

次の要件を全て満たす新規収載品（市場性加算（Ⅰ）、特定用途加算又は小児加算の対象となるものを除く）

- イ 主たる効能効果が、市場規模が小さいものとして別に定める薬効に該当すること
- ロ 比較薬が市場性加算（Ⅰ）又は市場性加算（Ⅱ）の適用を受けていないこと

特定用途加算（5～20％）

次の要件を全て満たす新規収載品（市場性加算（Ⅰ）の対象となるものを除く）

- イ **特定用途医薬品**として指定されていること
- ロ 比較薬が特定用途加算の適用を受けていないこと

小児加算（5～20％）

次の要件を全て満たす新規収載品（市場性加算（Ⅰ）又は特定用途加算の対象となるもの及び国内で小児効能に係る臨床試験を実施していない場合等は除く）

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

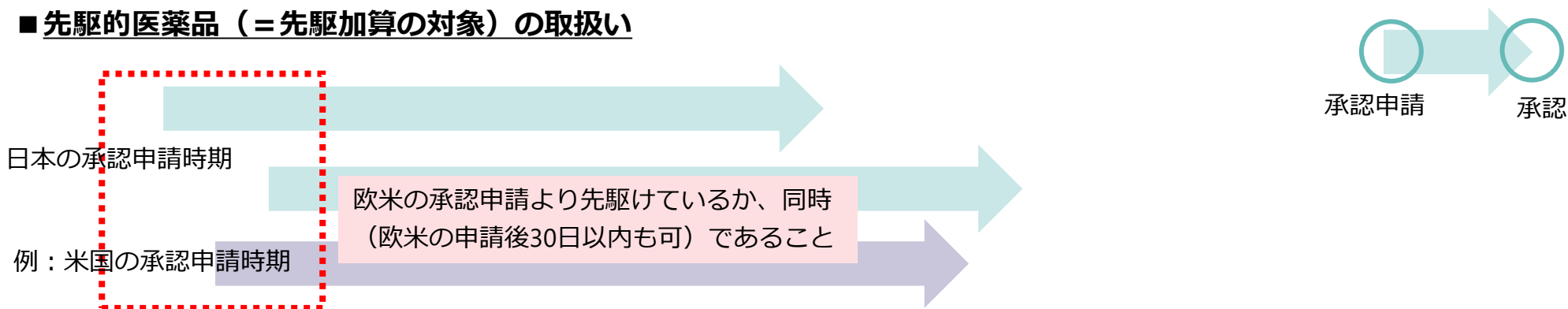
先駆加算（10～20％）

先駆的医薬品として指定されたもの（旧制度での指定品目を含む）

日本に早期導入することの考え方

- 先駆加算の対象とはならないものの、薬事承認制度を踏まえ、医療上必要な医薬品を日本へ迅速に導入したと考えられる場合を整理すると以下のようなことが考えられる。

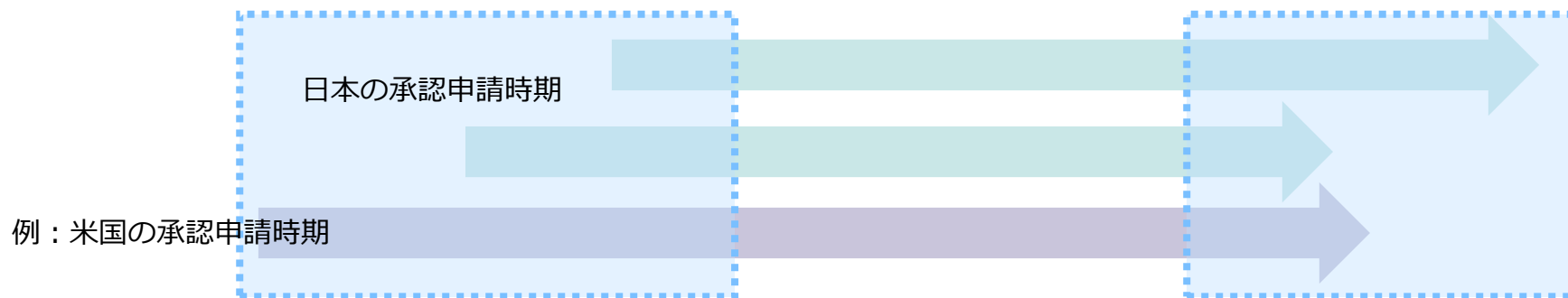
■先駆的医薬品（＝先駆加算の対象）の取扱い



■先駆的医薬品ではないが、優先審査品目であって日本へ迅速に導入したと判断できる考え方

例：申請が欧米の申請から6か月以内

例：承認が欧米の承認時期より早い、6か月以内



例えば、優先審査品目のうち、承認申請時期は先駆的医薬品の条件より柔軟に判断して一定期間内であって、承認時期も欧米の承認から一定期間内であれば迅速に日本に導入したことを評価してよいかどうか

国際共同治験の実施

- 国内で実施されている治験のうち国際共同治験によるものは増加傾向にあり、現在では6割を超えている。

薬物の国際共同治験の届出件数の推移



注：治験届（令和2年8月改正版）の様式への切替えに伴い提出された治験計画届を除く

収載後の外国平均価格調整

算定ルール

- 次に掲げる**すべてに該当する医薬品**（平成30年3月以前に薬価収載された品目については、再算定の対象となったものに限る）については、**薬価改定の際においても、1回に限り、外国平均価格調整を行う。**
 - ① **原薬・製剤を輸入しているもの**
 - ② **原価計算方式により算定されたもの**
 - ③ **薬価収載時に参照できる外国価格がなかったもの**
 - ④ **薬価収載後、いずれかの外国価格が初めて掲載されたもの**

- ただし、患者負担が急激に増加するおそれがあること、外国と比べて低い価格であっても既に国内での販売が実施できているものについて価格を調整する必要性に乏しいことなどを踏まえ、薬価改定時の外国平均価格調整においては、**引上げ調整は行わない。**

外国平均価格調整

- 類似薬効比較方式（I）（薬理作用類似薬がない場合に限る。）又は原価計算方式によって算定される場合であつて、外国価格との乖離が大きい場合（外国平均価格の1.25倍以上又は0.75倍以下）に、価格の調整を行う。

算定ルール

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

※ 外国価格が2か国以上あり、最高価格が最低価格の2.5倍超の場合は、最高価格を除いた外国価格の平均額

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

2. 以下の場合に価格調整を実施（外国平均価格に近づける方向に調整）

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

※ 外国平均価格が1か国のみ場合は引上げ対象外

【計算式】

① 1.25倍を上回る場合

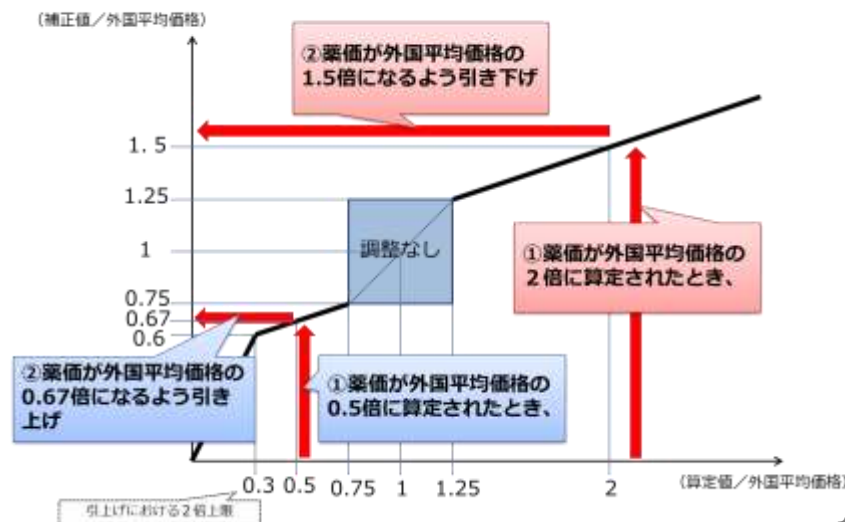
$$\left(\frac{1}{3} \times \frac{\text{算定値}}{\text{外国平均価格}} + \frac{5}{6} \right) \times \text{外国平均価格}$$

② 0.75倍を下回る場合

$$\left(\frac{1}{3} \times \frac{\text{算定値}}{\text{外国平均価格}} + \frac{1}{2} \right) \times \text{外国平均価格}$$

（ただし、算定値の2倍を上限）

外国平均価格調整の算定式のイメージ



論点

- 医療上の必要性が高い革新的新薬の早期導入に関しては、薬事承認における先駆的医薬品に対する先駆加算があるが、これに準じた評価として、薬事承認の取扱いを踏まえた以下の点について、どのように考えるか。
 - ① 国際的な開発が進行している又は日本で先に開発されている革新的新薬の日本への早期導入に対する評価を行うことについて、例えば、以下のような考え方を全て満たす品目を薬価において評価することをどのように考えるか。また、評価を行う場合、新規収載品目の補正加算、追加された効能・効果における改定時加算における適用についてどのように考えるか。
 - 国際的な開発が進行している（国際共同治験の実施）又は日本で先に治験が実施されている品目
 - 医薬品医療機器等法における優先審査品目
 - 承認申請時期が欧米より早い又は欧米で最も早い申請から6か月以内
 - 承認時期が欧米より早い又は欧米より最も早い承認から6か月以内
 - ② 収載後の外国平均価格調整について、現在は、原価計算方式のうち一定要件を満たす品目の引下げルールしか存在しないが、日本の早期導入を促す対応として、以下の点についてどのように考えるか。なお、本規定の制定経緯を踏まえると、価格の引上げを検討する場合には、患者負担増への影響等の配慮が必要であることにも留意が必要である。
 - 現在の収載後外国平均価格調整のルールにおいて、価格が引上げとなる場合も適用する。
 - 類似薬効比較方式で算定される品目についても収載後の外国平均価格調整のルールを適用し（他の適用要件は現行制度と同様）、いずれの算定方式においても価格の引上げ又は引下げを行う。

1. 新薬

- ・ 研究班からの報告（資料 薬 - 2）
- ・ 日本への早期導入に関する評価
- ・ 補正加算の評価（定量化、加算率）

■補正加算に対する課題（研究班での指摘）

<有用性系評価の定量的評価>

- 定量化の考え方を示した当時からの医薬品開発の変化に対応した評価内容
- 薬価算定組織における判断

<市場性加算、小児加算、先駆加算>

- 医薬品の開発状況を踏まえた加算率のメリハリつけた評価

薬価算定組織の意見・これまでの主な意見

薬価算定組織の意見（令和5年8月23日）

4. その他

(2) 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べきではないか。また、当面の間は、個別の事例に応じて薬価算定組織において必要と認めた場合は柔軟な評価を可能としてはどうか。

これまでの主な意見

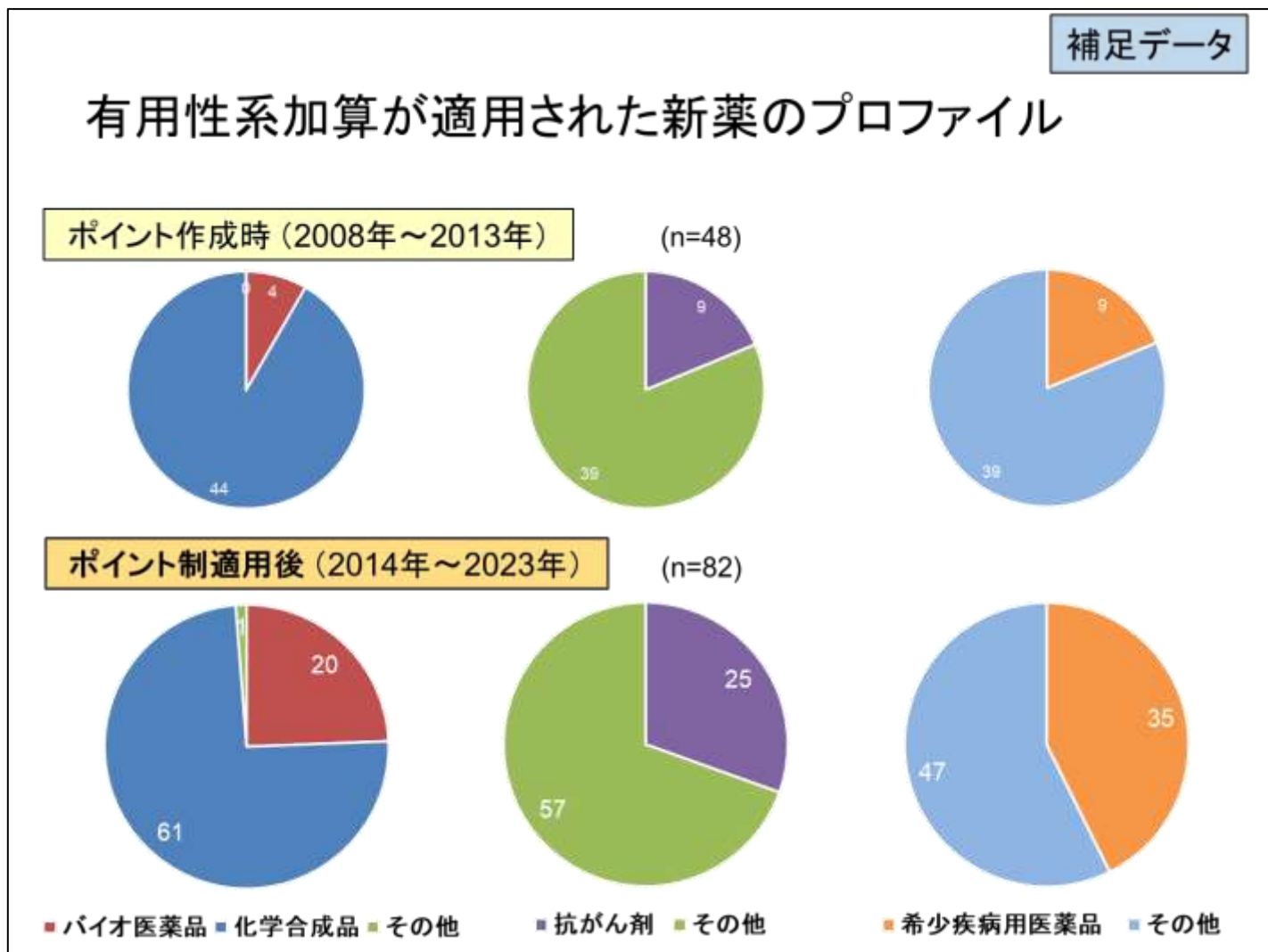
- ・ 期待に基づく加算は適切ではなく、臨床試験等による実証データ、エビデンスに対する国の評価に基づき加算すべき。
- ・ イノベーション評価の重要性は理解するが、定量化の具体的な方法や、それによる影響が議論に必要。
- ・ 現在の新薬の状況を踏まえ、有用性系加算において評価されるべき項目が含まれていない場合、そのエビデンスやデータを確認して見直すことが必要。
- ・ 現在の定量化による評価の見直しも含め、ある程度柔軟性を持たせた形に改善していく方向で検討すべき。
- ・ 現在のポイント制が最近の創薬モダリティーの変化を含めた医薬品の多面的な価値評価に十分に対応できていないとすれば、研究班からの具体的な提案に基づいて、その妥当性の検討が必要。

【関係業界からの意見】

- ・ 「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。
- ・ 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、評価の在り方について見直しを行うことに賛同。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議論すべき。

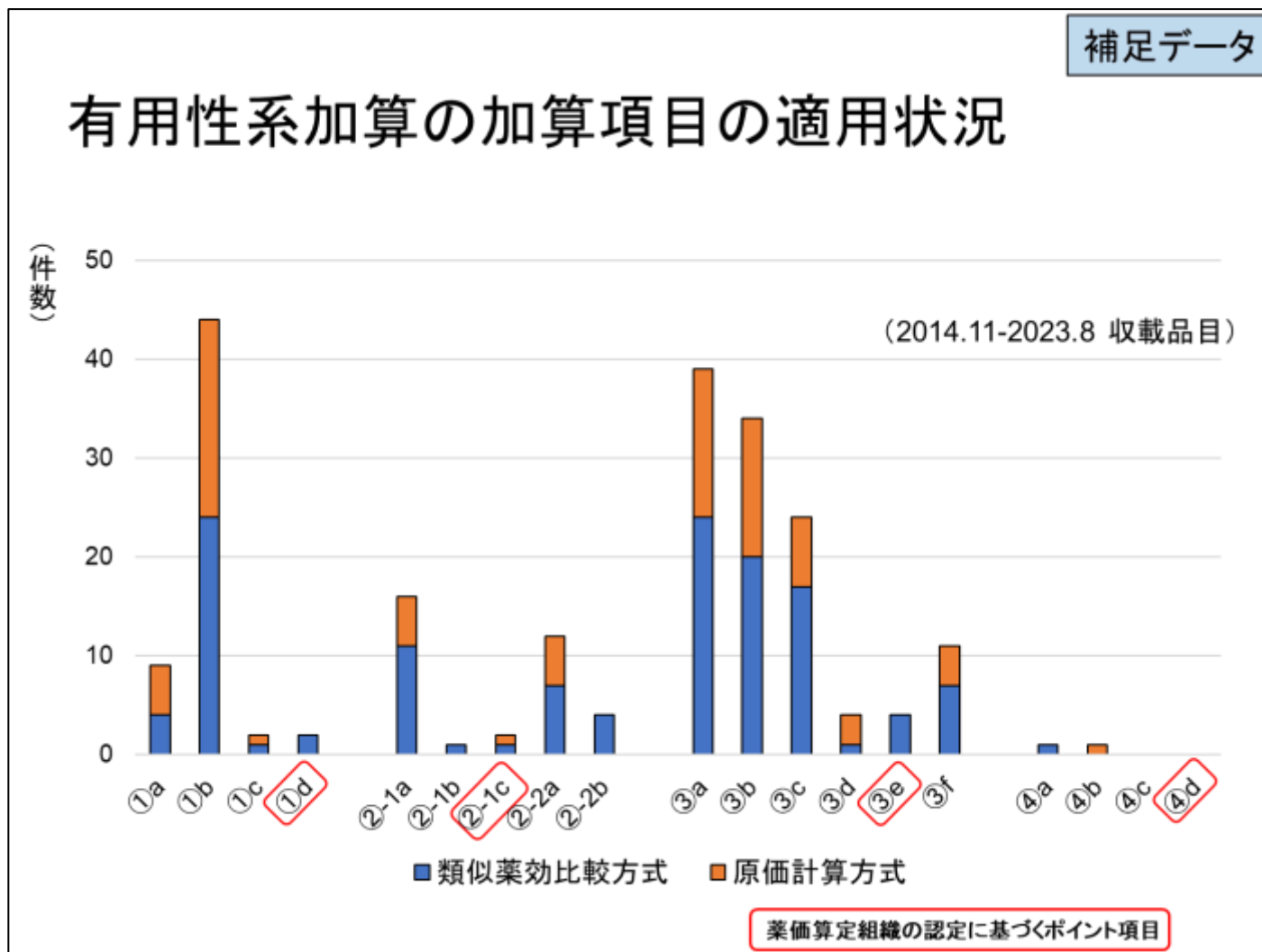
有用性系加算が適用された新薬のプロファイル（研究班報告）

- 定量化の考え方を導入した当時と比較すると、バイオ医薬品や核酸医薬品のように新たなモダリティの薬剤が増えているほか、がんや希少疾病を対象とする薬剤が増えている。



薬価算定組織の判断に基づく評価について（研究班報告）

- 定量化の考え方では、薬価算定組織の判断により評価できる項目が存在するが、この項目に基づき加算が適用された品目は限られている。



薬価算定組織の判断で評価した項目例

項目 該当要件

① d a又はbを満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床上特に著しく有用であると薬価算定組織が認める

ゾルゲンスマ点滴静注：本品は正常な遺伝子を細胞内に導入するという**根治的な作用機序**であり、本品投与後24カ月まで全例（15例）が永続的な呼吸補助を必要とせずに生存している点を評価。

ヘムライブラ皮下注：本剤は、活性型血液凝固第Ⅸ因子と血液凝固第Ⅹ因子に対する遺伝子組換えヒト化二重特異性抗体であり、血液凝固第Ⅷ因子では**効果の期待できないようなインヒビター**を保有する成人血友病A患者に対して**出血率の低下が認められた**点が評価

② 1 c a又はbを満たす場合であって、高い有効性／安全性が臨床上特に著しく有用であると薬価算定組織が認める

ガザイバ点滴静注：**新薬が長期間収載されていなかった状況において承認され**、海外の診療ガイドラインにおいて**標準的治療法として推奨**されていることが評価。

ソバルディ錠：本剤はインターフェロン治療で**効果不十分又は不耐容患者に対しても高い有効性**を示したこと等から、高い有効性、安全性及び臨床上の有用性が示されている。

③ e 上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める

ゾルゲンスマ点滴静注：**既存薬**は導入時の頻回な負荷投与に加え、4カ月に1回**繰り返し髄腔内注射**を行う必要があるが、**本品は1回の静脈内注射で投与が完結**することで患者負担が軽減される点が評価

ヘムライブラ皮下注：既存薬は静脈内投与に限られる中、本剤は皮下投与製剤であり利便性が高い。また既存薬は血漿分画製剤であることから、原料血漿に由来する感染症伝播のリスクを排除することができないが、本剤はヒト又は動物由来の原材料が使用されておらず、**原材料由来の感染症伝播リスクが低減**されることが評価。

ラパリムスゲル：「結節性硬化症に伴う皮膚病変」の効能・効果を有する初めての医薬品。**既存治療の外科的切除等に比べ侵襲性が低い**。また、本成分の内服薬では間質性肺疾患の発現や肝炎ウイルスキャリア患者への投与に関する注意喚起されている一方で、本剤では注意喚起がない点を評価。

ソバルディ錠：本剤は**経口投与による治療を可能とし**、インターフェロン治療で一部の患者に必要とされている投与初期の**入院等も必須ではない**こと等から、治療方法の改善が客観的に示されていると認められることが評価。

レンビマカプセル：放射性ヨード製剤抵抗性の分化型甲状腺癌に対する有効性が示されたこと、**標準的な治療法が確立しておらず予後の不良な疾患**である甲状腺髄様癌及び未分化型甲状腺癌**に対する適応が認められた**こと等から、疾病の治療方法の改善が示されたと評価。

アレセンサ：本剤は分子的診断による理論的根拠に基づいた薬剤であり、国内臨床試験において高い奏効率を示していること、**クリゾチニブ不応例に対しても高い奏効率**を示していることから、「治療方法の改善」が認められると評価。

④ d 上記の他、特に高い医療上の有用性があると薬価算定組織が認める

該当なし

有用性系加算等の評価項目と定量化 ①

背景

- 現在の薬価算定ルールは、化学合成による低分子医薬品を主な対象として作成され、累次の見直しが行われてきた。
- バイオ医薬品や核酸医薬等の新規モダリティ製品について、従来品との創薬・製造プロセスの大きな違いを踏まえた上で、その医療上の有用性を評価する仕組みが必要である。
- 現在、有用性系加算率の算出に参照されているポイント制は、過去の加算事例の再現を念頭に作成されたものであり、モダリティの変化を含めた医薬品の多面的な価値評価に十分に対応できていない。
- また、同じ疾患領域において新規作用機序の新薬が長期間掲載されていない場合には、比較薬の薬価が掲載時から大幅に下落している状況を補正する必要がある。

【対応案】（赤字が追加項目）

① 臨床上有用な新規の作用機序（該当する項目ポイントの合計により算出。a、b はいずれか1つ）

	ポイント
a. 薬理作用発現のための 薬剤の作用点（部位） が既掲載品目と大きく異なる	2p
b. 薬理作用発現のための 薬剤の標的分子（酵素、受容体など） が既掲載品目と異なる	1p
c. a又はbを満たす場合であって、 標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象 とする	+1p
d. a又はbを満たす場合であって、 創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なる ことに基づいた臨床上的有用性が示される	+1p
e. a又はbを満たす場合であって、 同じ疾患領域において、新規の作用機序の新薬が長期間掲載されていない	+1p
f. a又はbを満たす場合であって、示された 新規の作用機序が臨床上市特に著しく有用 であると薬価算定組織が認める	+1p

有用性系加算等の評価項目と定量化 ②

背景

- 有用性系加算の適用にあつては、類似薬に比した高い有用性等が比較試験の成績等から示されていることが求められているが、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾患等を対象とする薬剤が増えてきている。

【対応案】 (赤字が追加項目)

② 類似薬に比した高い有効性又は安全性 (②-1と②-2のポイントの積により算出)

②-1 高い有効性又は安全性の内容 (該当する項目ポイントの合計)

	ポイント
a. 临床上重要な有効性指標において類似薬等に比した高い有効性が示される	1p
b. 重篤な副作用の発現状況など、临床上重要な安全性指標において類似薬等に比した高い安全性が示される	1p
c. a又はbを満たす場合であつて、高い有効性又は安全性が临床上特に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1p

②-2 高い有効性・安全性の示し方 (いずれか1つ)

a. ランダム化比較臨床試験による※	2p
b. その他、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であつて、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による	1p

※新規配合剤で単剤に対する高い有効性の場合には1p

有用性系加算等の評価項目と定量化 ③

背景

- 類似薬効比較方式による算定を進める中で、作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定されている薬剤を比較薬として算定される事例が出てきているが、この場合、投与対象患者数が比較薬に比べて少なく、開発費用の回収が困難となる状況も想定される。
- また、臨床試験においてあらかじめ設定された重要な副次的評価項目において、患者QOLの向上などの改善が示された場合であっても、現時点では評価の対象となりにくい状況にある。

【対応案】（赤字が追加項目）

③ 対象疾病の治療方法の改善（該当する項目ポイントの合計により算出）

	ポイント
a. 既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる	1p
b. 対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる	1p
c. 既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い（製剤工夫によるものを除く）	1p
d. 既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される	1p
e. 作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される	1p
f. 患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比べた改善が示される	1p
g. 上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める	1p
h. a~gのいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1p

開発状況等に基づく加算率の評価の考え方

- 最近の国際共同治験など国際的な医薬品開発の状況や、症例数等による治験の実施の困難さ等を基に、研究班の指摘も踏まえると、現在規定されている範囲内で、加算率の付与を柔軟に判断することが考えられる。
- なお、加算率については、医薬品の開発状況は様々であり一律の基準を設けることは困難であり、従来から薬価算定組織の判断で評価されていることから、今後も同様に個別品目ごとに薬価算定組織で判断することが適当と考えられる。

■ 市場性加算（I） [10～20%]

- 投与患者数が著しく少なく、市場規模も小さい希少疾病用医薬品（例：500人未満／50億円未満など）については15%～20%の加算率を適用することが考えられる。
- 実施困難な国際共同治験への参加により世界の開発に合わせて日本でも開発されていた場合等には、加算率を充実させることが考えられる。

■ 小児加算 [5～20%]

- 重篤な疾病を適応対象とする場合、新生児・乳児又は低年齢の幼児を対象とした臨床試験が行われた場合、内容に応じて10～20%の加算率を適用することが考えられる。
- 実施困難な国際共同治験への参加により世界の開発に合わせて日本でも開発されていた場合等には、加算率を充実させることが考えられる。

■ 先駆加算 [10～20%]

- 日本が世界で初承認国であった場合に、治験実施の困難さや審査当局との治験相談・審査の手續等を考慮して15～20%の加算率を適用することが考えられる。

補正加算の評価（定量化、加算率）の論点等

背景

- 有用性系加算の定量化に関しては、最近の医薬品の開発動向や治験の実施状況等を踏まえると、新たに評価すべき観点が生じている。
- また、薬価算定組織の判断により評価を行うことができる項目についても、実際に加算が適用された事例は限られている。
- 現行の算定ルールでは、市場性加算、小児加算、先駆加算の加算率に幅が設けられているが、これまで実際に適用された加算率は、ほとんどのケースで最低の値である。

論点

- 補正加算の評価に関して、以下の点についてどのように考えるか。なお、これらの論点による方向性は、単に加算となる品目や加算率をあらゆるものに広げる趣旨ではなく、イノベーションの適切な評価の観点から、補正加算の考え方や評価の妥当性を踏まえ、個別品目ごとに薬価算定組織で判断するものであり、その結果は従来どおり中医協総会で説明して承認を得る手続は変わらないものとする。
 - 有用性系加算の定量化に関して、最近の医薬品の開発状況等を踏まえ、今回新たに項目を追加し（25～27ページの対応案）、それをもとに評価を判断していくことについて、どのように考えるか。
 - 市場性加算、小児加算等の有用性系加算以外の補正加算に関して、最近の医薬品の開発状況や、症例数等による治験の実施の困難さ等を踏まえ、現在規定されている範囲内で、加算率を柔軟に判断することについてどのように考えるか。

2. 基礎的医薬品

低薬価品の特例：基礎的医薬品

第3章第8節

算定ルール

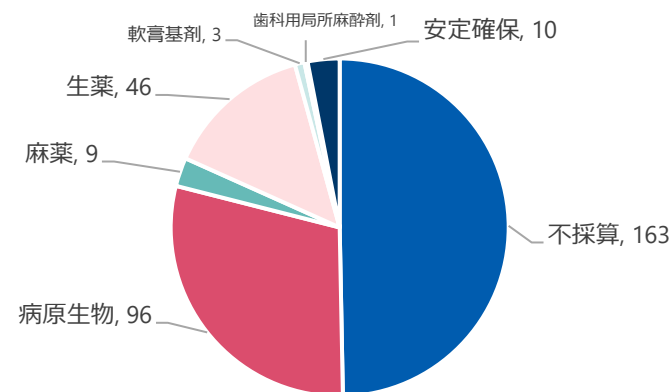
- 医療上必要性が高い医薬品については継続的な安定供給を確保する必要があるが、長期に薬価収載されている一部の医薬品では、製造原価の上昇、市場取引価格の低下等により、継続的な安定供給が困難な状況に陥るものが出てきている。
- このため、次の全ての要件を満たす医薬品については、薬価制度上、「基礎的医薬品」として取り扱い、**最も販売額が大きい銘柄に価格を集約し維持**するなどして、安定供給の確保を図っている（平成28年度以降）。
 - ① 医療上の位置付けが確立し、広く臨床現場で使用されていることが明らか
 - ② 25年以上薬価基準に収載されており、かつ成分・銘柄ごとのいずれの乖離率が全品目の平均乖離率以下
 - ③ 過去の不採算品再算定品目、病原生物に対する医薬品、医療用麻薬、生薬、軟膏基剤、歯科用局所麻酔剤のいずれか
- 加えて、令和4年度薬価制度改革により、**安定確保医薬品のうち優先度が高い品目**（カテゴリAに分類されている品目。ただし、Z期間終了前のものを除く。）について、一定要件の下、「基礎的医薬品」として取り扱うこととしている。

※改定に当たっては、G1該当から6年以内の先発品等を対象外とするなど他のルールとの整合を図る。

基礎的医薬品の成分数・告示数（令和5年度改定時点）

区分	成分数	告示数
不採算	163	555
病原生物	96	382
麻薬	9	28
生薬	46	55
軟膏基剤	3	11
歯科用局所麻酔剤	1	3
安定確保	10	60
合計	328	1,094

(参考) 各区分の成分数



※複数区分に該当する場合は、安定確保医薬品に係るものを除き、上の区分に分類

基礎的医薬品の経緯

- 基礎的医薬品については、平成28年度の導入後、対象品目の追加などが行われてきた。

	主な見直し等の内容
平成28年	基礎的医薬品のルールを導入 対象区分は、過去の不採算品再算定品目、病原生物に対する医薬品、医療用麻薬
平成30年	対象に以下を追加 <ul style="list-style-type: none"> ・ 生薬、軟膏基剤、歯科用局所麻酔剤（不採算に近い分野として、過去3回の乖離率が連続で2%以下であった薬効分類） ・ 薬効分類600番台（病原生物に対する医薬品）・800番台（麻薬）以外の麻薬・抗生物質等（抗生物質による点眼剤、歯科用抗生物質、麻薬による麻酔剤など）
令和4年	対象に 安定確保医薬品（カテゴリA） を追加 基礎的医薬品から外れた品目が再び基礎的医薬品となったときの取扱いを規定※ ※ 再び基礎的医薬品となったときに、それ以外の基礎的医薬品まで薬価を戻さず、激変緩和の観点から50%分戻すこととしたもの

< 基礎的医薬品の成分数・告示数の推移 >

	成分数	告示数
平成28年度	1 3 4	4 3 9
平成30年度	2 6 1	6 6 0
令和元年度	2 6 1	7 1 5
令和2年度	3 0 6	7 6 3
令和3年度	3 0 6	8 2 3
令和4年度	3 3 1	1,0 7 3
令和5年度	3 2 8	1,0 9 4

基礎的医薬品における状況変化と現状

- 基礎的医薬品は、薬価改定が繰り返されることにより、H28改定で導入された当時とは状況が異なっている。

<①薬価収載からの期間>

- 基礎的医薬品は改定を繰り返すことによる薬価の下落を下支えする制度であり、長期間にわたり収載されている品目の考え方として「薬価収載の日から25年を経過しているもの」が設定されている。
- 制定当時の薬価改定は2年に1回の頻度であったが、令和3年度以降は毎年改定が行われており、これまでの中間年改定では全品目の平均乖離率程度の品目であったとしても改定対象となっていることから、制定時と比較して短期間で薬価が引き下がりやすくなっている。
- また、最近の不採算品再算定を受けた品目は、収載後25年未満のものも一定数存在する。不採算品再算定が適用された品目であっても薬価収載から25年を経過しないと基礎的医薬品の対象とならないことから、収載時期の整理が必要となっている。

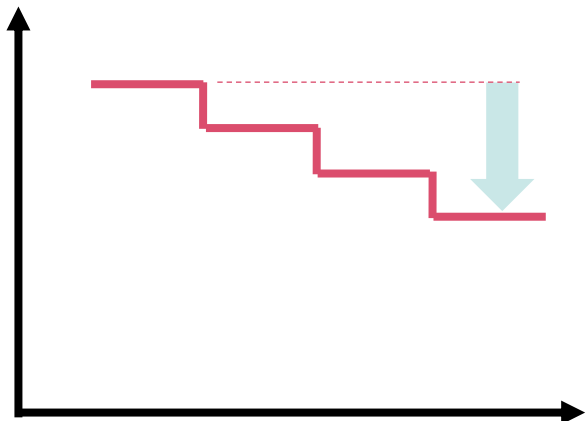
<②価格帯>

- 基礎的医薬品は「最も販売額が大きい銘柄に価格を集約し維持」することとしているが、「平均乖離率が全品目の平均乖離率以下」でない個別品目は基礎的医薬品の対象外となり、加重平均した価格帯に集約される。このため、同一成分・規格であっても「基礎的医薬品」、「それ以外（基礎的医薬品外れ）」の2つの価格帯が生じる。
- その後、改定が繰り返されることにより、一度基礎的医薬品から外れたものが再び基礎的医薬品に戻った場合や、中間年改定において基礎的医薬品から外れた場合などには価格帯が増えることになるため、実際には価格帯は2つには収まっておらず、個別品目ごとにみれば価格が上下することもあるなど、複雑になっている。

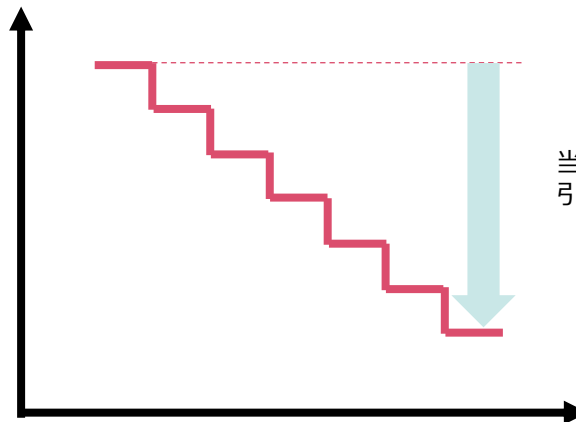
基礎的医薬品における状況変化と現状（イメージ）

価格が引き下がる期間

<H28改定当時の薬価改定による価格引下げ>



<現在の薬価改定による価格引下げ>




当時より短期間で価格が引き下がる

価格帯の変化

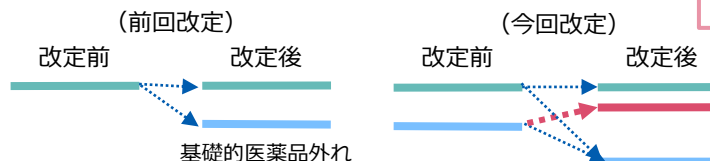
元々の基礎的医薬品に該当する薬効分類の価格帯イメージ

基礎的医薬品 

基礎的医薬品外れ 

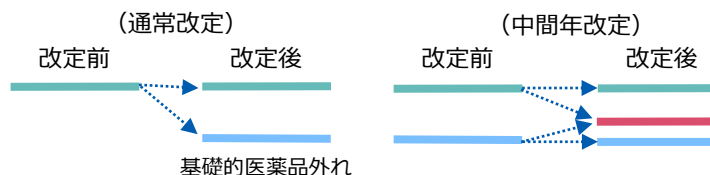
価格帯増加のイメージ

①基礎的医薬品外れが基礎的医薬品に戻る場合



基礎的医薬品に戻ると、
特例措置により50%分価格が引き上がる

②中間年改定



改定対象のうち
基礎的医薬品外れとなった品目で、
新たな価格帯が生じる

業界団体からの要望事項（基礎的医薬品）

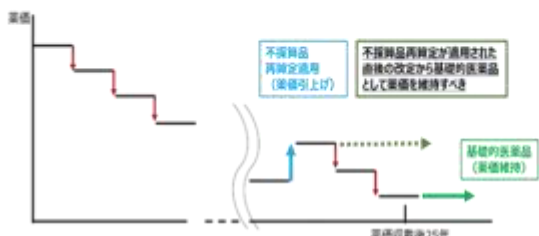
- 関係業界からは、基礎的医薬品の対象となる品目の拡充や薬価収載からの年数の短縮化、特に不採算品再算定が適用された品目等について収載後25年の要件に関わらず基礎的医薬品として薬価を維持することが要望されている。

中医協 薬-1
5.9.20

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。

不採算品再算定対象品目における収載からの年数

- 基礎的医薬品は収載後25年以上が要件となっているが、25年未満で不採算品再算定の対象となる品目も少なくない。

【不採算品再算定対象品目における収載からの年数】

(当該年改定における品目数に占める割合)

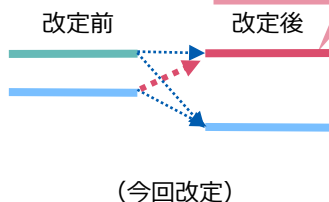
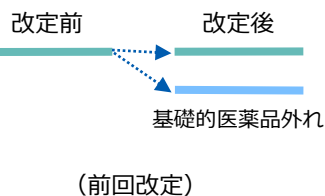
	25年以上	20年以上 25年未満	15年以上 20年未満	15年未満
R4年度	60%	7%	10%	23%
R5年度	55%	8%	11%	25%

基礎的医薬品の価格帯の課題

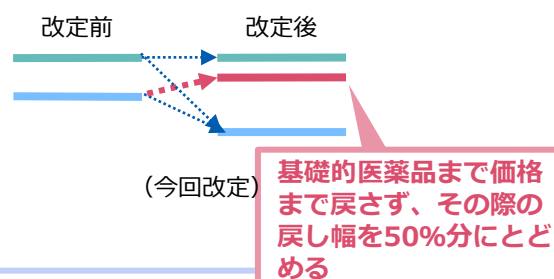
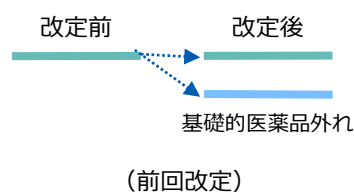
令和4年改定で価格帯の運用改善措置を新設したが、改定を繰り返すことで、通常の2つの価格帯（基礎的医薬品のグループ、基礎的医薬品外れのグループ）とは異なる価格帯の調整措置が必要なケースが様々生じる可能性があり、運用が非常に複雑になってしまう。

【現行】

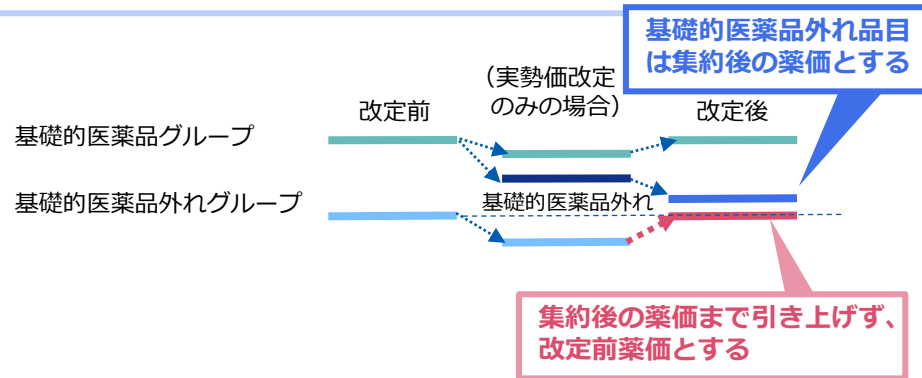
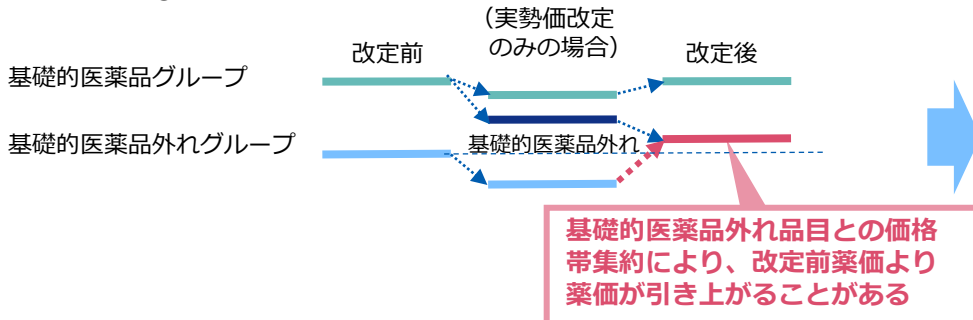
<イメージ①>



【見直し後】



<イメージ②>



基礎的医薬品に関する論点等

背景・現状

- 基礎的医薬品は、現行の不採算品再算定、最低薬価になる前の薬価を下支えする制度として位置付け、平成28年度薬価制度改革において導入されたもの。
- 収載から25年以上経過し、かつ成分全体及び銘柄の乖離率が全ての既収載品の平均乖離率以下であることが対象品目の要件とされているが、令和3年度薬価改定から毎年改定が実施され、収載から25年の間に経る薬価改定の回数は制度導入当時から増えている。
- また、不採算品再算定の対象となった品目の収載からの期間は、25年未満の品目が少なくない。
- 基礎的医薬品は、最も販売額が大きい銘柄に価格を集約した上で維持するものであるが、全ての既収載品の平均乖離率を超えた銘柄については対象外となる。対象外となった銘柄が再び対象となった場合には価格を一定程度引き上げることとしているほか、対象から外れた銘柄については加重平均して価格を集約することから結果的に改定前薬価よりも薬価が引き上がることもあるなど複雑な仕組みとなっており、対象品目の価格を単純に維持するものではなくなっている。

論点

- 最近の薬価改定の状況や不採算品再算定の適用状況等を踏まえ、基礎的医薬品の対象となる品目の要件、特に収載からの期間を短い期間とすることについて、どのように考えるか。
- 基礎的医薬品の価格設定のあり方、特に基礎的医薬品の対象から外れた銘柄の価格設定について、どのように考えるか。

参 考 资 料

先駆的医薬品に関する加算の実績

- 先駆加算は10～20%の範囲で適用されるが、すべての品目で10%が適用されており、それを超える加算率が適用されたことはない。

※ H26改定において先駆導入加算（10%）として導入され、H28改定で先駆け審査指定制度加算（10～20%）となり、R4改定より先駆加算

< 収載時の加算（先駆加算） > (A=10～20%)

※ 令和5年度は8月収載分まで

年度	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
収載時	—	—	1成分 (2品目)	3成分 (3品目)	1成分 (2品目)	5成分 (5品目)	3成分 (3品目)	1成分 (1品目)	—
A=10%	—	—	1成分	2成分	1成分	5成分	3成分	1成分	—
A=10～20%	—	—	—	—	—	—	—	—	—

< 薬価改定時の加算（先駆的医薬品） > (A=5～30%)

年度	H22	H24	H26	H28	H30	R2	R4
収載時	—	—	—	—	—	—	1成分 (1品目)
A=5%	—	—	—	—	—	—	1成分
A=10～30%	—	—	—	—	—	—	—

※ 改定時の加算においては、薬価に対する補正加算率（ α ）は上記のAの値を元に市場規模を踏まえて算出する。

希少疾病用医薬品に関する加算の実績

- 市場性加算（Ⅰ）は希少疾病用医薬品に対して10～20%、市場性加算（Ⅱ）はそれ以外の市場規模の小さい品目に対して5%適用されるが、大半の品目では5%が適用されており、それを超える加算率が適用されることは稀である。

<収載時の加算（市場性加算（Ⅰ）／（Ⅱ））> (A=5~20%)

※ 令和5年度は8月収載分まで

年度	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
収載時	0成分 (0品目)	2成分 (4品目)	1成分 (1品目)	8成分 (12品目)	6成分 (8品目)	5成分 (10品目)	12成分 (13品目)	13成分 (17品目)	7成分 (9品目)
A=5% (市場性Ⅱ)	—	—	—	—	1成分	1成分	—	—	—
A=10% (市場性Ⅰ)	—	2成分	1成分	8成分	5成分	4成分	12成分	13成分	7成分
A=15~20% (市場性Ⅰ)	—	—	—	—	—	—	—	—	—

<薬価改定時の加算（希少疾病）> (A=5~30%)

年度	H22	H24	H26	H28	H30	R2	R4
収載時	3成分 (5品目)	4成分 (10品目)	4成分 (6品目)	13成分 (31品目)	11成分 (19品目)	6成分 (14品目)	15成分 (39品目)
A=5%	3成分	3成分	4成分	13成分	11成分	6成分	14成分
A=7.5%	—	1成分	—	—	—	—	1成分
A=10~30%	—	—	—	—	—	—	—

※ 改定時の加算においては、薬価に対する補正加算率（α）は上記のAの値を元に市場規模を踏まえて算出する。

小児用の医薬品に関する加算の実績

- 小児加算は5~20%の範囲で適用されるが、大半の品目では5%が適用されており、それを超える加算率が適用されることは稀である。

<収載時の加算（小児加算）> (A=5~20%)

※ 令和5年度は8月収載分まで

年度	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
収載時	1成分 (1品目)	1成分 (1品目)	1成分 (2品目)	5成分 (7品目)	5成分 (6品目)	2成分 (2品目)	5成分 (10品目)	5成分 (8品目)	2成分 (2品目)
A=5%	1成分	1成分	1成分	5成分	5成分	1成分	5成分	4成分	2成分
A=10%	-	-	-	-	-	1成分	-	1成分	-
A=15~20%	-	-	-	-	-	-	-	-	-

<薬価改定時の加算（小児適応）> (A=5~30%)

年度	H22	H24	H26	H28	H30	R2	R4
収載時	3成分 (7品目)	7成分 (18品目)	7成分 (21品目)	8成分 (18品目)	7成分 (27品目)	6成分 (13品目)	10成分 (29品目)
A=5%	3成分	7成分	7成分	8成分	7成分	4成分	9成分
A=7.5%	-	-	-	-	-	2成分	1成分
A=10~30%	-	-	-	-	-	-	-

※ 改定時の加算においては、薬価に対する補正加算率（ α ）は上記のAの値を元に市場規模を踏まえて算出する。

新薬の薬価算定ルールに関する検討事項の提案 (中間報告)

厚生労働行政推進調査事業費補助金(地域医療基盤開発推進研究事業)

適切な医薬品開発環境・安定供給及び流通環境の維持・向上に関する研究

研究代表者 成川 衛 (北里大学薬学部)

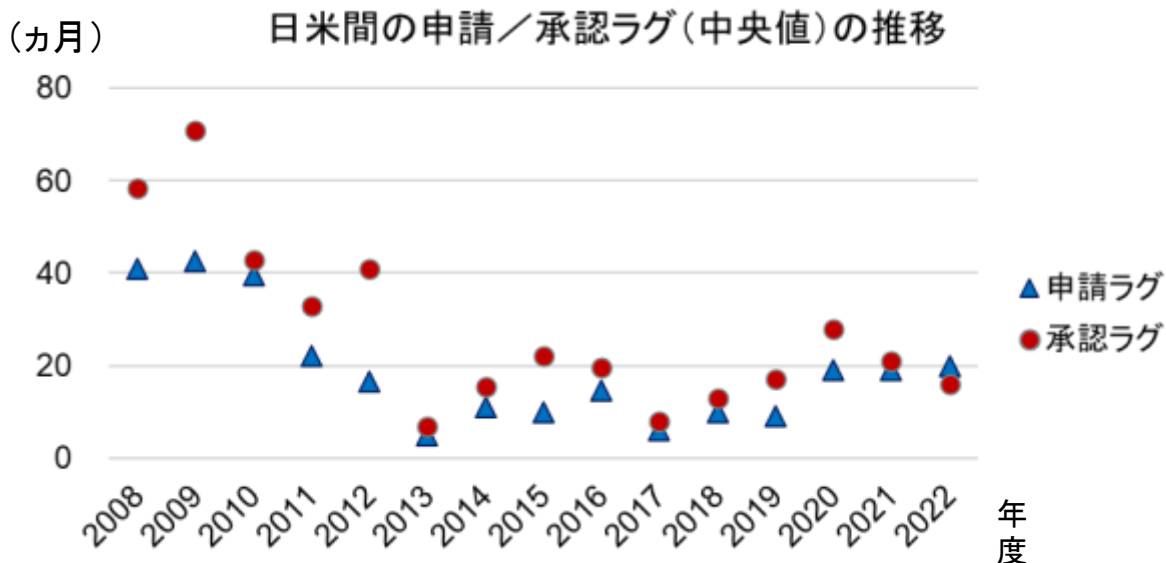
研究分担者 小林江梨子(城西国際大学薬学部)

近年のドラッグラグの状況(1)

新薬の開発タイミングに関する調査

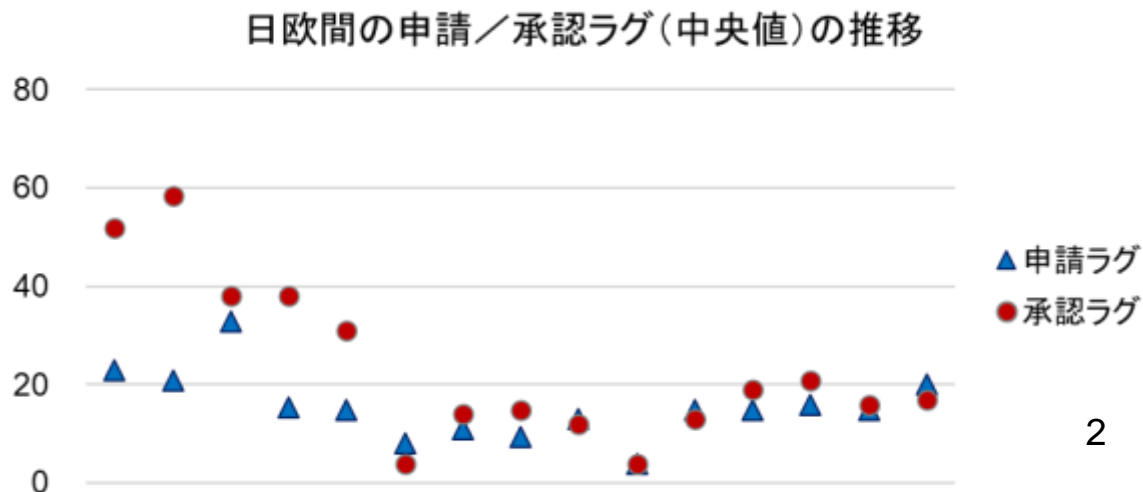
【方法】

- 2008～2022年度に日本で承認された新薬(新有効成分)について、米国又は欧州での申請日及び承認日との差を算出し、年度ごとに中央値を算出



【結果】

- 日米間、日欧間の申請／承認ラグの経時推移は右図のとおり



近年のドラッグラグの状況(2)

日本における新薬開発遅延の背景に関する研究

【方法】

- 2010年～2020年に日本より先に米・欧の双方承認された新薬(新規有効成分)を研究対象
- ①日本未承認薬を含めた全薬剤、②日本で承認された薬剤の各々を対象として、生存時間解析(Cox回帰)により日本での開発・承認が遅延した背景を分析

【結果】

日本での開発・承認の遅延と統計学的に有意な関連が見られた因子

分析①(全薬剤:n=217)

- 日本に類薬が存在しない新薬
- 欧米承認取得企業に日本法人がない新薬

分析②(日本既承認薬剤:n=115)

- オリジン企業と日本承認取得企業が異なる新薬
- 内資系企業が承認取得した新薬(海外からの導入品が多い)
- 予測販売額が小さい新薬
- 国内試験を追加実施した新薬

近年のドラッグラグの状況(3)

抗がん剤のドラッグラグの分析

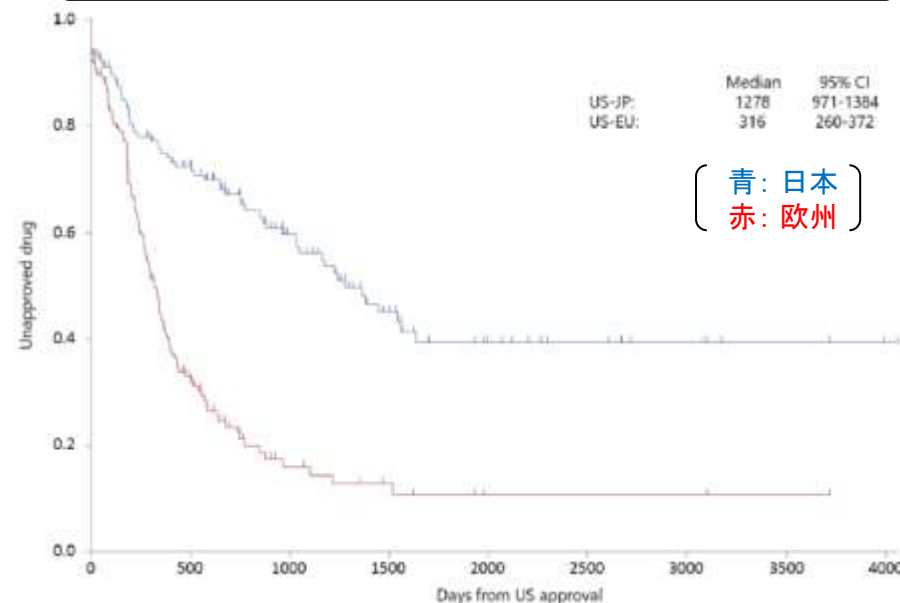
【方法】

- 2011年～2022年に米国で承認された新規抗がん剤(n=136)を研究対象
- 日-米間の承認ラグを前期(2011年-2016年)と後期(2017年-2022年)で比較
- 日-米間、欧-米間の承認ラグを比較
- 生存時間解析(Cox回帰)によりラグと関連する因子を分析

【結果】

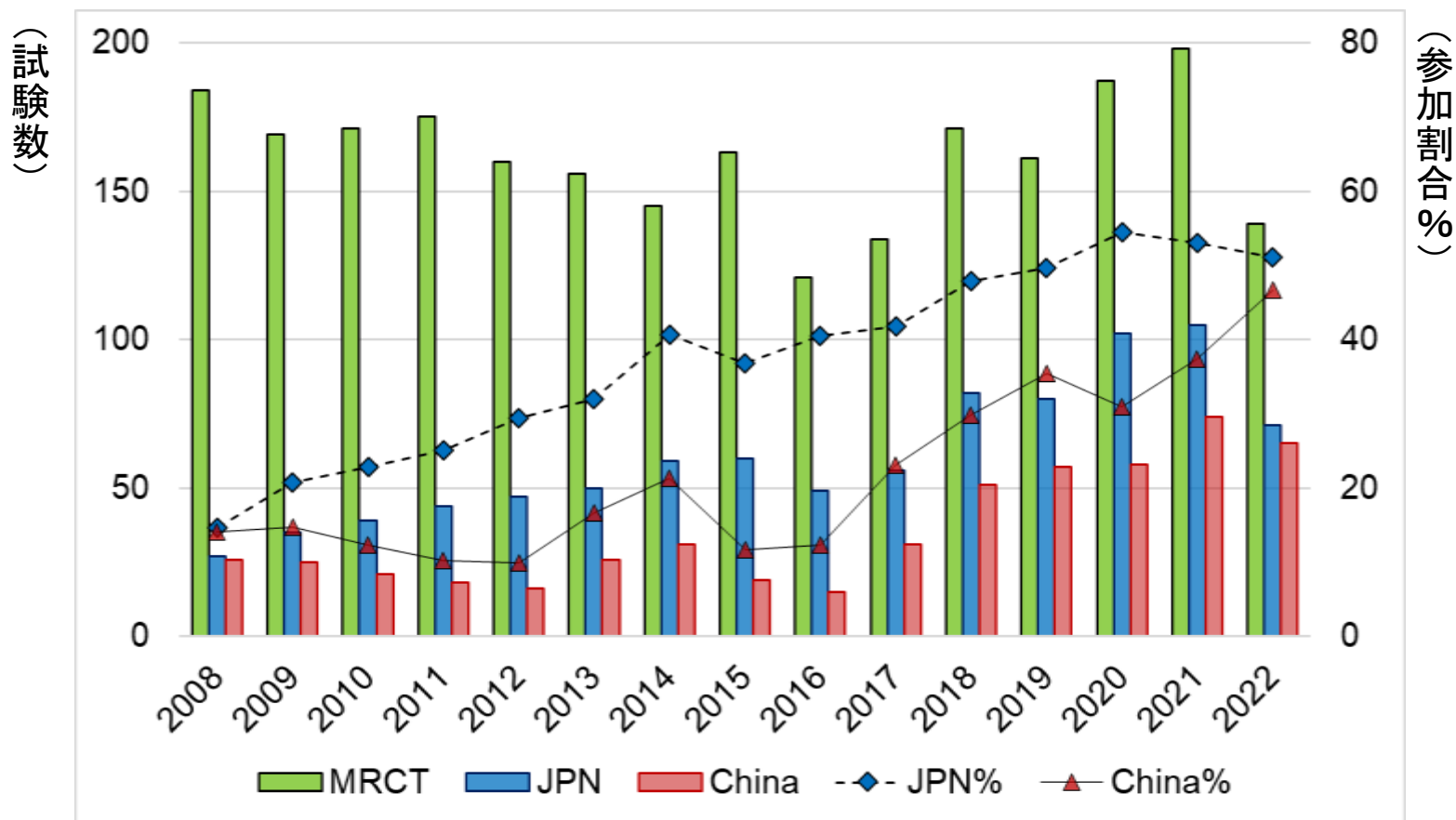
- 日米間の承認ラグは、前期より後期の方が大きかった(後期は未承認薬が増加)
- 日米間の承認ラグは、欧米間の承認ラグに比べて大きかった
- 以下の状況において、日米間の承認ラグは統計学的に有意に大きかった
 - 中小規模の外国企業が米国承認を取得
 - 米国承認取得時の主要な試験に日本が参加していない

米国承認後、日本又は欧州承認までの期間(日)



国際共同試験の状況

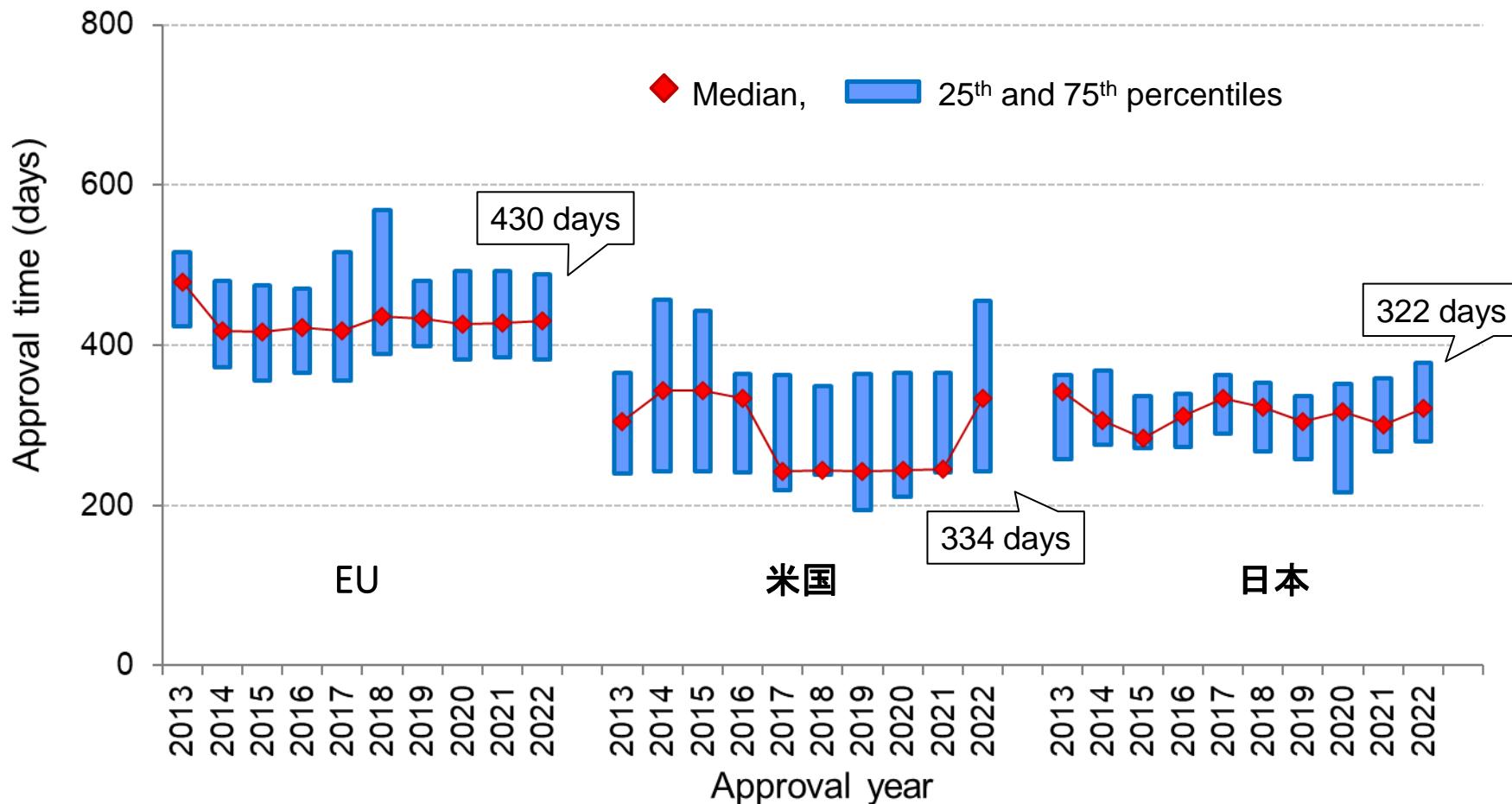
外資系製薬企業上位10社による国際共同試験*への日本の参加状況



* 国際共同試験(MRCT):
米国に加え、欧州5カ国(仏、独、英、伊、西)のうち
少なくとも1カ国が参加したPh.2又はPh.3 試験

審査パフォーマンス

新薬(新有効成分)の審査期間の日米欧比較



革新的新薬の日本市場への速やかな導入のために 薬価・薬事の両面から検討すべき方向

- 国際共同試験への参加の促進
- 日本法人を有さない海外企業(特に中小規模)の考慮
- 臨床試験環境の整備
- 製薬産業における創薬力の強化

新薬の薬価算定ルールに関する検討事項の提案

1. 医療上の必要性が高い革新的新薬の早期導入インセンティブ
 - 革新的新薬の迅速導入加算
 - 薬価収載後の外国平均価格調整(引上げ調整)
2. 創薬モダリティの変化への対応、医薬品の多面的な価値の評価
 - 有用性系加算率の算出ポイントの見直し
3. その他補正加算の加算率のメリハリ
 - 市場性加算、小児加算などについて、加算率の幅の中でも大きな率を適用するケースの例示
 - 薬価算定組織の認定に基づく加算項目の積極的な適用

1. 医療上の必要性が高い革新的新薬の 早期導入インセンティブ

【背景】

- 日本の医薬品市場の魅力低下が指摘されている中、医療上の必要性が高い革新的新薬の日本への早期導入を積極的に評価する姿勢が求められる。
- 適切な類似薬がなく、かつ参照できる外国価格が存在しない場合は、収載時薬価の予見可能性が特に低く、日本への早期導入の障害となっている。



- 医療上の必要性が高い革新的新薬を対象として、その日本への早期導入のためのインセンティブの方策を提案する。
 - ① 日本も参加する国際共同試験が行われるなど国際的な開発が進行している革新的新薬を日本に遅滞なく導入した場合の加算
 - ② 薬価収載後の外国平均価格調整(引上げ調整)

1. 医療上の必要性が高い革新的新薬の 早期導入インセンティブ

① 国際的な開発が進行している革新的新薬を日本に迅速に導入した場合の加算(迅速導入加算)

■ 対象医薬品

国際的な開発が進行しており、薬機法に基づく優先審査の対象となった医薬品*であって、米国及び欧州に先立って承認されたもの、あるいは米国又は欧州のいずれか早い方との申請時期の差が6か月以内のもの

(* 先駆加算の対象となるものを除く)

■ 加算率

先駆加算の加算率が10~20%であることを考慮して検討

② 薬価収載後の外国平均価格調整(引上げ調整)

■ 対象医薬品及び調整方法

先駆加算又は上記①迅速導入加算が適用された品目に対して、既収載品の外国平均価格調整に係る既存ルール*を準用

(* 現在は引下げ調整のみ。類似薬効比較方式による算定品目も対象に加え、参照国数についても併せ検討)

薬機法に基づく優先審査について

【優先審査の対象品目】

1. 希少疾病用医薬品
2. 先駆的医薬品
3. 特定用途医薬品
4. 次のいずれの要件にも該当する新医薬品
 - a. 適用疾病が重篤であると認められること
 - b. 既存の医薬品等と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められること

薬価収載後の外国平均価格調整について

- 2018年11月～2022年11月の4年間に薬価収載された新薬のうち、優先審査の対象となった品目であって、米欧に先立って承認されたか、米欧いずれか早い方との申請時期の差が6か月以内のものについて、外国価格の経時的な参照可能状況を調査
 - 対象19品目のうち 18品目について、薬価収載時には外国価格が参照できなかった*
(* 参照可能国が 0又は1カ国)
 - このうち、2023年9月時点で 2カ国以上の外国価格が参照可能となったものが 12品目あった（以下、例示）

医薬品名	現行薬価	外国平均価格(円)		日本／外国価格
ゾスパタ錠	19,752.30	32,085.00	英独仏	0.616
エンハーツ点滴静注用	164,811.00	376,205.00	米英仏	0.438
ウィフガート点滴静注	421,455.00	998,233.00	米英	0.422

2. 創薬モダリティの変化への対応 医薬品の多面的な価値の評価

【背景】

- 現在の薬価算定ルールは、化学合成による低分子医薬品を主な対象として作成され、累次の見直しが行われてきた。
- バイオ医薬品、再生医療等製品などの新規モダリティ製品について、従来品との創薬・製造プロセスの大きな違いを踏まえた上で、その医療上の有用性を評価する仕組みが必要である。
- 現在、有用性系加算率の算出に参照されているポイント制は、過去の加算事例の再現を念頭に作成されたものであり、モダリティの変化を含めた医薬品の多面的な価値評価に十分に対応できていない。



- 有用性系加算率の算出のためのポイントに新たな項目を追加することを提案する。

結果

1. 有用性加算等の加算率

算定実績と定量化ルールによる評価の一致率の検討

有用性加算（Ⅰ）適用品目（4品目）

B \ A	35%	40%	45%	50%	55%	60%
35%	1					
40%		2				
45%		1				
50%						
55%						
60%						

有用性加算（Ⅱ）適用品目（43品目）

B \ A	5%	10%	15%	20%	25%	30%
5%	20					1*
10%	3	12	2			
15%			2			
20%				2	1	
25%						
30%						

*: 降圧薬とコレステロール低下薬の配合剤

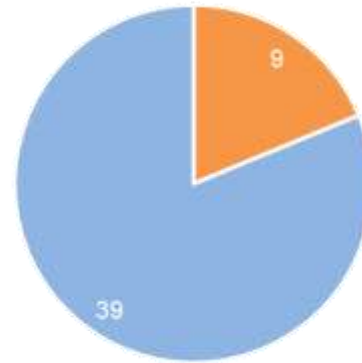
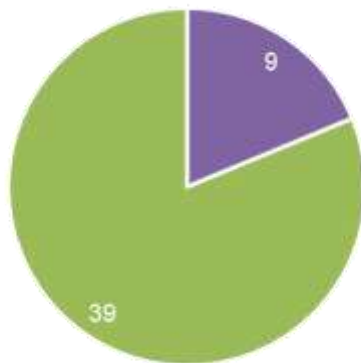
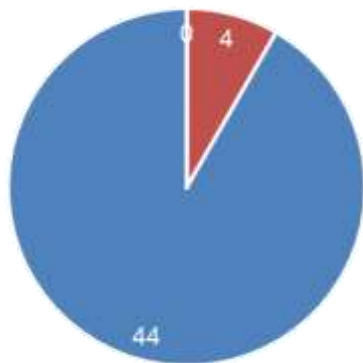
A : 実際の加算率

B : 本研究に基づき算出した加算率

有用性系加算が適用された新薬のプロファイル

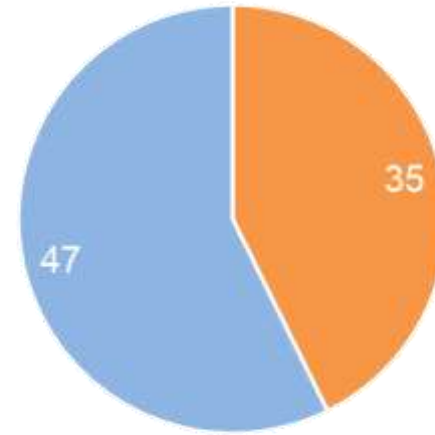
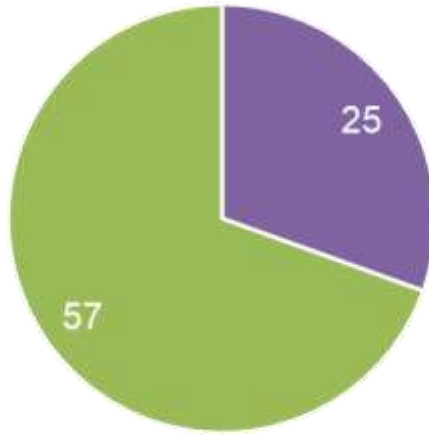
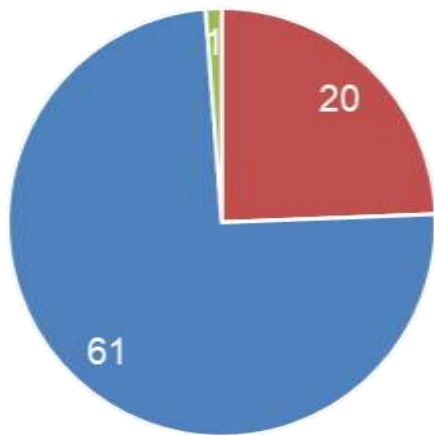
ポイント作成時（2008年～2013年）

(n=48)



ポイント制適用後（2014年～2023年）

(n=82)



■ バイオ医薬品 ■ 化学合成品 ■ その他

■ 抗がん剤 ■ その他

■ 希少疾病用医薬品 ■ その他

2. 創薬モダリティの変化への対応、 医薬品の多面的な価値の評価

【有用性系加算率の算出のためのポイント項目(追加)】

イ. 新規の作用機序

バイオ医薬品や核酸医薬等の新規モダリティ製品を想定

- ✓ (臨床上有用な新規の作用機序を有し、かつ) 創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上の有用性が示される
- ✓ (臨床上有用な新規の作用機序を有し、かつ) 同じ疾患領域において新規の作用機序の新薬が長期間掲載されていない

比較薬の薬価が掲載時から大幅に下落している状況を補正

ロ. 高い有効性又は安全性

- ✓ その他、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であって、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による

薬価算定組織での専門的見地からの評価結果を考慮

ハ. 治療方法の改善

- ✓ 作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される
- ✓ 患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比した改善が示される

比較薬に比べて患者数が少なく開発費用の回収が困難な状況を想定

バリデートされた評価指標が用いられるなどの前提が必要

要件イ

臨床上有用な新規の作用機序を有すること

① 臨床上有用な新規の作用機序（該当する項目ポイントの合計により算出. a、b はいずれか1つ）		
a.	薬理作用発現のための薬剤の作用点(部位)が既収載品目と大きく異なる	2p
b.	薬理作用発現のための薬剤の標的分子(酵素、受容体など)が既収載品目と異なる	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1p
d.	a又はbを満たす場合であって、創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上の有用性が示される	+1p
e.	a又はbを満たす場合であって、同じ疾患領域において新規の作用機序の新薬が長期間収載されていない	+1p
f.	a又はbを満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床上特に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1p

要件ロ

類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること

② 類似薬等に比した高い有効性又は安全性（②-1 と②-2 のポイントの積により算出）		
②-1 高い有効性又は安全性の内容（該当する項目ポイントの合計）		
a.	臨床上重要な有効性指標において類似薬に比した高い有効性が示される	1p
b.	重篤な副作用の発現状況など、臨床上重要な安全性指標において類似薬に比した高い安全性が示される	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、高い有効性／安全性が臨床上特に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1p
②-2 高い有効性又は安全性の示し方（いずれか1つ）		
a.	ランダム化比較臨床試験による	2p
b.	その他、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であって、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による	1p

要件ハ

当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること

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

創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なる 品目の例

	薬価収載	新薬	効能・効果	比較薬	効能 効果	薬理 作用	投与 形態
1	2019年9月	パチシランナトリウム 【核酸医薬】	トランスサイレチン 型家族性アミロイド ポリニューロパチー	タファミジスメグルミン 【低分子医薬品】	一部 重複	異なる	異なる
2	2023年5月	ペグバリアーゼ(遺伝子組換え) 【バイオ医薬品】	フェニルケトン尿症	サプロプテリン塩酸塩 【低分子医薬品】	類似	異なる	異なる

単群試験の成績で高い有効性が示された 難病・希少疾病用薬の例

	薬価収載	医薬品名	効能・効果	概要	薬価算定
1	2022年8月	エジャイモ点滴静注 (スチムリマブ(遺伝子 組換え))	寒冷凝集素症	<ul style="list-style-type: none"> ● 寒冷凝集素症は指定難病である自己免疫性溶血性貧血一病型 ● 寒冷凝集素症に対する初めての治療薬 ● 単群試験(国際共同試験)データ(24例)に基づく承認 	原価計算方式 有用性加算Ⅱ(5%) [ハ(対象疾病の治療方法の改善)]
2	2022年11月	コセルゴカプセル (セルメチニブ硫酸塩)	神経線維腫症 1型における 叢状神経線維腫	<ul style="list-style-type: none"> ● 神経線維腫症1型は指定難病 ● 神経線維腫症1型における叢状神経線維腫に対する初めての治療薬 ● 単群試験データ(12例)に基づく承認 	類似薬効比較方式Ⅰ 有用性加算Ⅱ(10%) [ハ(対象疾病の治療方法の改善)]

作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定されている品目の例

	薬価収載	効能・効果		予測投与患者数		薬価算定
		新薬	比較薬	新薬	比較薬	
1	2020年5月	MET遺伝子エクソン14スキッピング変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	ALK融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌 (ROS1 融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌)	523人	1,600人	有用性加算Ⅱ (5%) [イ:新規作用機序]
2	2021年8月	再発又は難治性のEZH2遺伝子変異陽性の濾胞性リンパ腫	皮膚T細胞性リンパ腫	286人	760人	有用性加算Ⅱ (5%) [イ:新規作用機序]
3	2021年11月	RET融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	ALK融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌 (ROS1 融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌)	748人	1,600人	有用性加算Ⅱ (5%) [イ:新規作用機序]

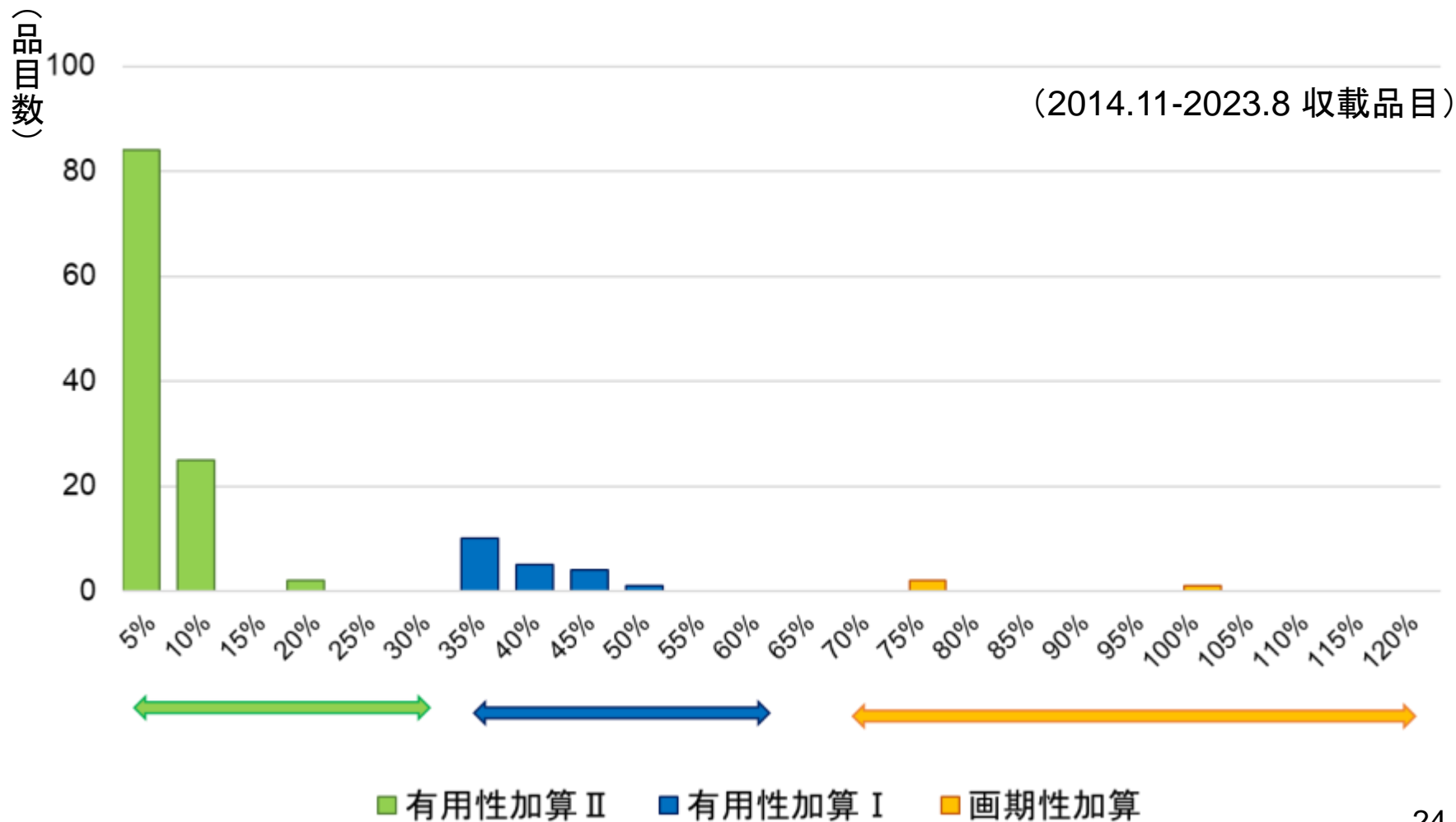
現行ルール

有用性系加算の要件と加算率

- イ. 臨床上有用な新規の作用機序を有すること
- ロ. 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること
- ハ. 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること
- ニ. 製剤における工夫により、類似薬又は既存治療に比して、高い医療上の有用性を有することが、客観的に示されていること

画期性加算	イ、ロ、ハの全てを満たす	70%～ 120%
有用性加算(Ⅰ)	イ、ロ、ハのうち2つを満たす	35%～ 60%
有用性加算(Ⅱ)	イ、ロ、ハ、ニのいずれか1つを満たす	5%～ 30%

有用性系加算の加算率の分布



イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること

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

ロ 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること

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

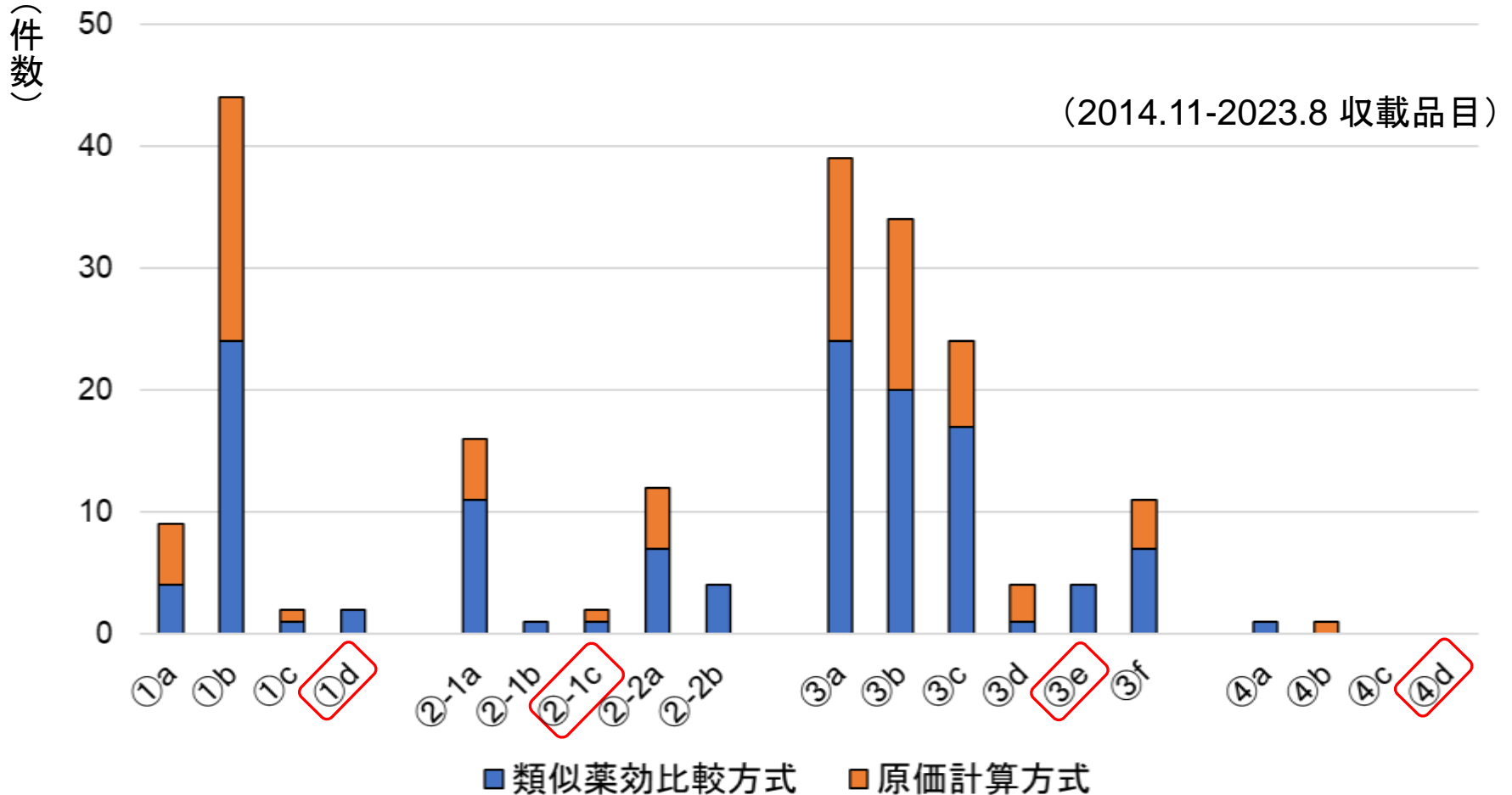
ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること

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

ニ 製剤における工夫により、類似薬又は既存治療に比して、高い医療上の有用性を有することが、客観的に示されていること

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

有用性系加算の加算項目の適用状況



3. その他補正加算の加算率のメリハリ

【背景】

- 現行の算定ルールでは、市場性加算、小児加算、先駆加算の加算率に幅が設けられているが、これまで実際に適用された加算率は、ほとんどのケースで最低の値である。



- 希少疾病用医薬品や小児用医薬品の開発を促進するため、高めの加算率を適用してもよいと考えられる要件や事例を提案する。
- 併せて、以下の提案を行う。
 - ① 有用性系加算率の算出において、「薬価算定組織の認定」に基づく加算項目の適用は限定的*であり、今後より積極的な適用を試みる。
(* 総適用項目210件中、「薬価算定組織の認定」に基づく項目の適用は8件)
 - ② 複数種類の加算について、各々の加算の目的が異なることに鑑みて該当性を判断し、適切と判断される場合には併算定を行う等の工夫を行う。

3. その他補正加算の加算率のメリハリ

【高めの加算率を適用してもよいケースの例示】

市場性加算(I): [10~20%]

- 投与患者数が著しく少なく、市場規模も小さい希少疾病用医薬品
(例:500人未満/50億円未満など)については15~20%の加算率を適用

小児加算: [5~20%]

- 重篤な疾病を適応対象とする場合、新生児・乳児又は低年齢の幼児を対象とした臨床試験が行われた場合には、内容に応じて10~20%の加算率を適用

先駆加算: [10~20%]

- 日本が世界で初承認国であった場合に、治験実施の困難さや審査当局との治験相談・審査の手続等を考慮して15~20%の加算率を適用

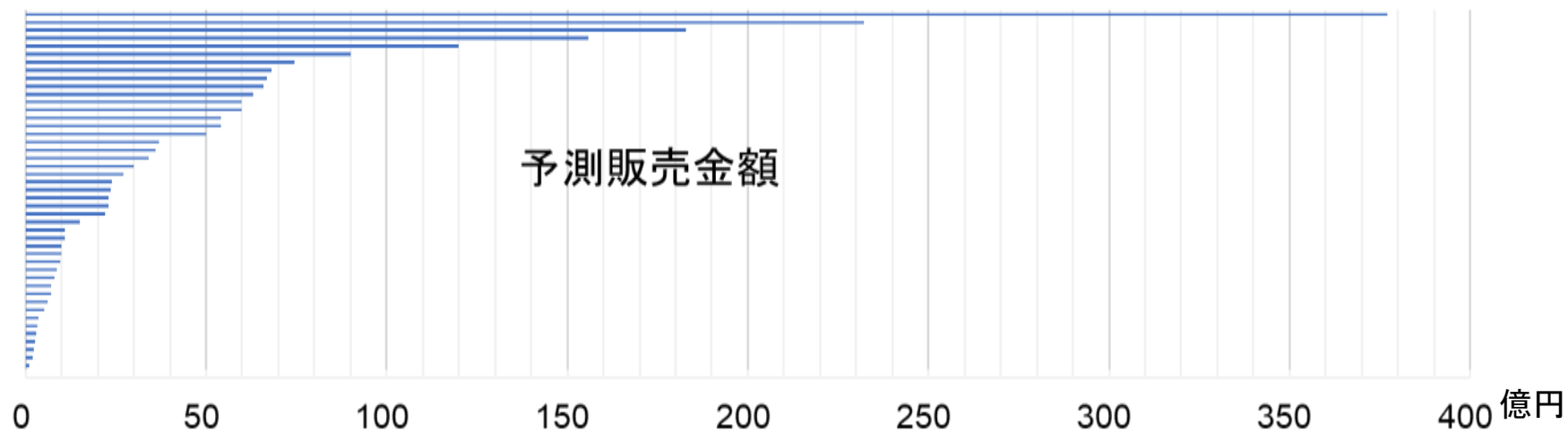
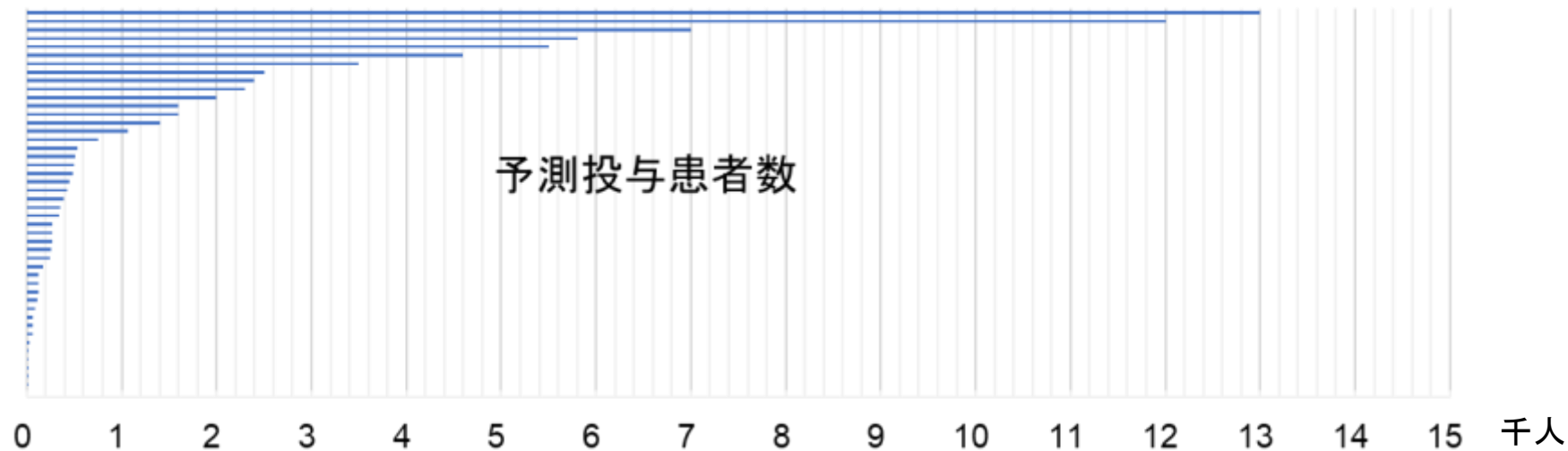
その他補正加算の加算率の分布

	算定基準における加算率	適用された加算率
市場性加算(Ⅰ)	10%～ 20%	10%: 48品目 20%: なし
小児加算	5%～ 20%	5%: 27品目 10%: 2品目 20%: なし
先駆加算	10%～ 20%	10%: 11品目 20%: なし

(2014.11-2023.8 収載品目)

市場性加算(Ⅰ)が適用された品目の 予測投与患者数及び販売金額*の分布

(* 患者数、金額ともにピーク時の値)



小児加算の加算率10%が適用された品目の背景

過去の中医協総会資料における小児加算理由の説明(抜粋)

	過去の中医協総会資料における小児加算理由の説明(抜粋)
品目1	日本人の試験組み入れ数、観察期間等を踏まえ、加算率は10%が妥当である。
品目2	6歳未満の患者等での有効性を評価していないため、限定的な評価とすべきである一方、国内の検証的試験における小児の登録症例数が約300例と比較的多いことは評価できるため、小児加算(A=10%)を適用することが妥当と判断した。
品目3	[調査対象期間外の古い事例ではあるが加算率15%が適用されたもの] 国内で2歳以上の小児を対象とした治験を実施し、小児の用法・用量設定のための十分なデータを収集した点は評価できる。

将来に向けた課題

- 類似薬効比較方式の適用範囲の拡大に向けた具体的な検討
- 再生医療等製品を含む新規モダリティ製品の評価のあり方の検討
- 薬事承認・上市時までにはその医療上の価値を十分には明らかにできない製品について、市販後のエビデンス収集を強化し、それに基づいた価格の見直しを積極的に行う仕組みの検討