

## 革新的な治療・開発アプローチの変化

- AI、核酸医薬、ゲノム創薬、がんゲノムによる個別化医療、ビッグデータ利活用の進展等

## アプローチの変化を捉えた魅力ある研究開発・規制・事業環境の整備へ

- 低コストで効率的な最先端の創薬を実現できる環境整備  
例えば、条件付き早期承認等の制度化などにより、世界に先んじた日本での実用化
- ビジネスモデルの変革や新規プレイヤーの参入・成長

海外市場に展開する「創薬大国」を実現

# 医薬品産業強化総合戦略の見直しについて（案）

- 平成29年6月に閣議決定した「経済財政運営と改革の基本方針2017」において、「競争力の強い医薬品産業とするため、「医薬品産業強化総合戦略」の見直しを行う。」としており、今般、必要な見直しを行う。

## ○ 薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（平成28年12月四大臣合意）（抄）

### 2. 改革とあわせた今後の取組み

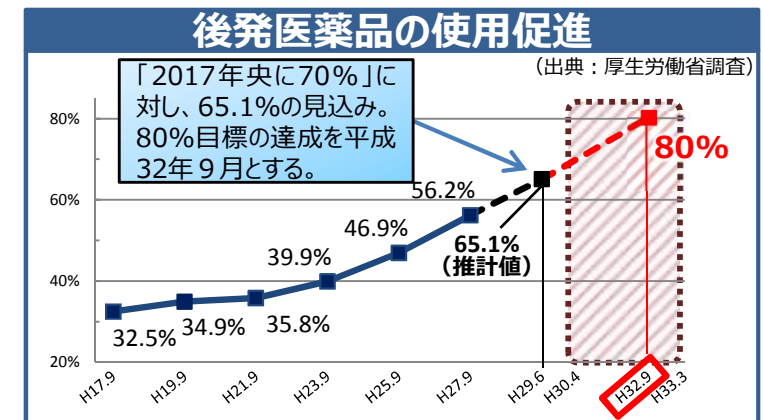
(3) 我が国の製薬産業について、長期収載品に依存するモデルから、より高い創薬力を持つ産業構造に転換するため、革新的バイオ医薬品及びバイオシミラーの研究開発支援方策の拡充を検討するとともに、ベンチャー企業への支援、後発医薬品企業の市場での競争促進を検討し、結論を得る。

## ○ 経済財政運営と改革の基本方針2017（平成29年6月閣議決定）（抄）

### ⑦ 薬価制度の抜本改革、患者本位の医薬分業の実現に向けた調剤報酬の見直し、薬剤の適正使用等

また、競争力の強い医薬品産業とするため、「医薬品産業強化総合戦略」の見直しを行う。

2020年（平成32年）9月までに、後発医薬品の使用割合を80%とし、できる限り早期に達成できるよう、更なる使用促進策を検討する。バイオ医薬品及びバイオシミラーの研究開発支援方策等を拡充しつつ、バイオシミラーの医療費適正化効果額・金額シェアを公表するとともに、2020年度（平成32年度）末までにバイオシミラーの品目数倍増（成分数ベース）を目指す。



# 医薬品産業強化総合戦略の見直しについて（案）

## 医薬品産業強化総合戦略（厚生労働省）（平成27年9月）

（背景）

- 我が国は世界で数少ない**新薬創出国**であり、知識集約型産業である医薬品産業は、「日本再興戦略」や「健康・医療戦略」においても我が国の**成長産業**の柱の一つとして位置づけられている。
- 「後発医薬品80%時代」において、「**国民への良質な医薬品の安定供給**」・「**医療費の効率化**」・「**産業の競争力強化**」を**三位一体で実現**するため、医薬品産業の競争力強化に向けた緊急的・集中実施的な総合戦略を策定

### 【Ⅰ イノベーションの推進】

- ① 臨床研究・治験活性化等
- ② 産学官の連携強化（大学発優れたシーズの実用化）
- ③ イノベーションの評価

### 【Ⅱ 質の高い効率的な医療の実現】

- ① 基礎的医薬品等の安定供給の確保
- ② 後発医薬品の使用の加速化（＝長期収載品比率の減少）
- ③ 流通の安定化・近代化

### 【Ⅲ グローバルな視点での政策の再構築】

- ① 国際支援
- ② 国際薬事規制調和戦略
- ③ 医薬品産業の将来像（論点）

「イノベーションの推進」と「国民負担の軽減」の加速

## 薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（平成28年12月）の下で強化する対応

- 1 日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善
- 2 薬事規制改革等を通じたコスト低減と効率性向上
- 3 医薬品の生産性向上（バイオシミラーを含む）と製造インフラの整備
- 4 適正な評価の環境・基盤整備
- 5 日本発医薬品の国際展開の推進
- 6 医療とサービスを融合させるプレイヤーの創出／創薬業界の新陳代謝を促すグローバルなベンチャーの創出

# 薬事規制改革への取り組みと、リアルワールドデータの活用

- 革新的医療へのアクセスの向上、創薬の生産性向上、適正使用の推進に配慮し、革新的な医薬品の創成と育成という観点から医薬品の規制を改革する。

## 「条件付き承認制度」の活用や「さきがけ審査指定制度」の制度化

- 疾患の重篤性等も考慮し、高い有用性が期待できる革新的な医薬品の**早期の実用化と開発の道筋を明確化**
- これに沿ったPMDAによる開発支援のための相談の提供などを通じ、開発の効率化と規制の予見性向上

### 条件付き承認制度

高い有用性が期待  
できる革新的医薬品

製造販売後のデータを  
最大限活用

リアルワールドデータ等を活用  
した製造販売後の有効  
性・安全性の確認

承認内容の確認  
条件解除  
適応拡大等

探索的  
臨床試験

条件付  
早期承認

### 先駆け審査指定制度

世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、**通常の半分の6ヶ月間**で承認）を目指すもの（現在医薬品10品目を指定）

## リアルワールドデータの利活用推進

- 実臨床を反映した電子的な医療情報（リアルワールドデータ）の利活用による、臨床試験、市販後調査の効率化・**低コスト化・迅速化**
  - PMDAに構築した医療情報データベース（MID-NET）を、平成30年度より運用開始。ビッグデータの活用により、医薬品等の安全対策の高度化を推進。
  - NC（国立高度専門医療研究センター）の疾患登録システムのリアルワールドデータについてDBを構築し、薬事での利活用を促進。

（例）ゲノム解析に基づくがん医療（がんゲノム医療）のデータを臨床試験に代替して医薬品開発に活用

## 規制改革のためのPMDAの審査の質の向上

- 審査ラグ「0」は達成。審査の更なる迅速化や、新たなデータを活用するためにPMDAを体制強化、審査の質を向上

# 医薬品の条件付き早期承認制度について

重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件により付与する取扱いを整理・明確化し、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高い医薬品を早期に実用化する。

## 通常の承認審査

探索的  
臨床試験※1等

検証的  
臨床試験※2

承認申請  
審査

承認

副作用報告  
製造販売後調査

- ※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験
- ※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定した用法・用量等での医薬品の有効性・安全性を検証する試験

## 条件付き早期承認制度

探索的  
臨床試験※1等

承認申請  
審査

承認

副作用報告  
製造販売後調査

- ・ 検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認し、早期申請
- ・ 優先審査品目として総審査期間を短縮

### 承認条件を付与

- (例) ・ 製販後の有効性・安全性の再確認  
(リアルワールドデータ活用を含む)
- ・ 適正使用に必要な場合は施設等要件の設定 等