

**真に医療の質の向上に貢献する医薬品の
国内開発状況について**

**中央社会保険医療協議会
薬価専門部会**

2013年11月6日

**専門委員 加茂谷佳明
土屋 裕**

新薬創出・適応外薬解消等促進加算について

平成24年度薬価制度改革の骨子(抜粋)

平成23年12月21日 中医協 総会 了承

第2 具体的内容

4. 新薬創出・適応外薬解消等促進加算

新薬創出・適応外薬解消等促進加算は、喫緊の課題となっている適応外薬等の問題の解消を促進させるとともに、革新的な新薬の創出を加速させることを目的に、平成22年度薬価制度改革において試行的に導入されたものである。試行的導入により、適応外薬等の問題の解消については一定の成果が認められるものの、新薬創出等については引き続き一定期間の検証が必要であることを踏まえて、試行を継続することとし、平成24年度薬価制度改革においては、別紙の通り一部改正した上で、実施することとする。

新薬創出・適応外薬解消等促進加算の仕組みの検証

以下のⅠ及びⅡの合計額を評価指標の一つしてはどうか。また、他の指標として必要なものが無いか引き続き検討してはどうか。

評価指標（案）

- I. 「真に医療の質の向上に貢献する医薬品の国内開発費」について、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の適応を受けている全ての製薬企業について合算した額
- II. 「適応外薬等の解消のための研究・開発費」について、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の適応を受けている全ての製薬企業について合算した額

真に医療の質の向上に貢献する医薬品について

専門委員
加茂谷佳明
土屋 裕

「平成24年度薬価制度改革の骨子」別紙3.(2)

ドラッグラグ解消の指標については、真に医療の質の向上に貢献する医薬品の国内開発状況の確認などが考えられるが、この妥当性も含めどのような指標が適切か検討し、その指標に基づく対応状況を、真に医療の質の向上に貢献する医薬品を世界に先駆け国内開発したことに対する評価も含め検証する。

専門委員意見

「真に医療の質の向上に貢献する医薬品」について、例えば以下のものが該当するのではないかと考える。

- 未承認薬・適応外薬及び、その他学会等から開発要望があった医薬品
- 小児、オーファン領域を対象とした医薬品
- 既存の治療薬では十分な効果が得られない疾患に対する医薬品
(難病、アンメットニーズへの対応など)

なお、上記品目と併せて世界同時、あるいは世界に先駆けて開発を進めるなど、ドラッグラグの未然防止という観点からの評価も考慮されるべきではないかと考える。

調査方法

【対象】

日本製薬団体連合会・保険薬価研究委員会より、新薬創出等加算適用品目を有する83社（非会員企業3社含む）に調査票を送付し、全社から回答

【調査内容】

1. 各社直近の決算期末日時点における国内開発品目および世界同時開発品目の状況
(PⅠ～PⅢ、申請準備・申請中、承認品目)
2. 1. で回答した品目に係る直近の決算期1年間の開発費
 - ・要望対応品目【A】に係る開発費総額（下表、赤枠）
 - ・要望対応品目【A】または真に医療の質の向上に貢献する医薬品【B】に係る開発費総額（下表、青枠）
3. 真に医療の質の向上に貢献する医薬品の探索研究に係る直近の決算期1年間における研究費

（調査票の概要と記載例）

製品名 もしくは 開発ナン バー等	開発 ステー ジ	適応疾患 もしくは 領域	要望対応品目【A】		真に医療の質の向上に貢献する医薬品【B】 (重複あり)					ドラッグラグ 未然防止 【C】
			公募品目・ 未承認薬・ 適応外薬	その他 学会等からの 開発要望品目	小児	オーファン	アンメット ニーズ対応品	新規作用 機序品	その他 (新たな投与形 態、等)	世界同時 開発品目
◆◆◆	申請中	◇◇◇	○		○		○			
△△△	PⅢ	▲▲▲		○		○	○			
■ ■ ■	PⅡ	□ □ □					○	○		○

調査結果

- 要望対応品目や真に医療の質の向上に貢献する医薬品の開発品目数は、800以上あり、世界同時開発品も多い。
- 上記の医薬品の国内開発に、年間約2,900億円を投資している。

1. 国内開発品目および世界同時開発品目の状況

数字は品目数、【A】 【B】 【C】 は重複あり

開発品目 総数	要望対応品目【A】		真に医療の質の向上に貢献する医薬品【B】 (重複あり)					ドラッグラグ 未然防止【C】
	公募品目・ 未承認薬・ 適応外薬	その他 学会等からの 開発要望品目	小児	オーファン	アンメット ニーズ対応品 (※2)	新規作用 機序品	その他 (新たな投与形 態、等)	世界同時 開発品目
804	146	60	103	165	231	341	189	260

※ 各社直近の決算期末時点の国内開発品目（P I～Ⅲ、申請準備、申請中、承認を含む）

※2 平成25年9月25日中医協・薬価専門部会、日薬連意見陳述資料スライド8の薬剤貢献度が低い疾患およびそれらに類する疾患を対象とした医薬品
既存の治療では十分な効果が得られない疾患、例えば難病などを対象とした医薬品

2. 上記開発品目に係る国内開発費の状況

開発費 総額	要望対応品目【A】 に該当する品目に 係る開発費 (【B】にも該当する品目含む)	真に医療の質の向上に 貢献する医薬品【B】 のみに該当する品目に 係る開発費
2,906.2	387.9	2,518.3

単位：億円

※ 各社直近の決算期末まで1年間の当該開発品目の国内開発に関連した以下の費用の概算

試験・申請費用実費（外部委託費など試験にかかる費用全てを含む）、人件費（研究開発部門及び薬事部門）、等

【参考】 国内開発品目および世界同時開発品目の状況 (加算額別内訳)

数字は品目数、【A】 【B】 【C】 は重複あり

加算額	企業数	開発品目 総数	要望対応品目【A】		真に医療の質の向上に貢献する医薬品【B】 (重複あり)					ドラッグラグ 未然防止 【C】
			公募品目・ 未承認薬・ 適応外薬	その他 学会等からの 開発要望品目	小児	オーファン	アンメット ニーズ対応品	新規作用 機序品	その他 (新たな投与 形態、等)	世界同時 開発品目
10億円以上	20	459	72	23	57	73	119	231	92	203
1億円以上 10億円未満	33	226	52	22	38	67	85	84	46	46
1億円未満	23 ※	119	22	15	8	25	27	26	51	11
合計	74	804	146	60	103	165	231	341	189	260

※：品目数の回答が無かった7社を除く

アンメットニーズ対応品の例

薬剤貢献度や治療満足度の低い疾患に対して、世界同時開発を行うなど、日本での早期上市に向けて積極的に開発を進めている。

- サイトメガロウイルス感染抑制
- 多剤耐性肺結核症
- 慢性腎不全
- ALS（筋委縮性側索硬化症）
- デュシェンヌ型筋ジストロフィー
- 線維筋痛症
- 膵癌、肝細胞癌、胃癌、非小細胞肺癌、子宮頸癌、卵巣癌
- 成人T細胞白血病
- 骨髄異形成症候群
- 非アルコール性脂肪肝
- 脊髄小脳変性症
- 加齢黄斑変性症
- 肺動脈性肺高血圧症
- 慢性腎臓病患者の高リン血症

調査結果 総開発要請件数「0件」35社の状況

適応外薬等の開発要請がなかった企業においても、要望対応品目や真に医療の質の向上に貢献する医薬品の国内開発に投資している。

1. 国内開発品目および世界同時開発品目の状況

数字は品目数、【A】【B】【C】は重複あり

開発品目 総数	要望対応品目【A】		真に医療の質の向上に貢献する医薬品【B】 (重複あり)					ドラッグラグ 未然防止【C】	
	公募品目・ 未承認薬・ 適応外薬	その他 学会等からの 開発要望品目	小児	オーファン	アンメット ニーズ対応品 (※2)	新規作用 機序品	その他 (新たな投与形態、 等)	世界同時 開発品目	
116	13	15	13	31	28	36	45	12	
	(28社)	(8社)	(8社)	(9社)	(15社)	(15社)	(14社)	(15社)	(7社)

※ 各社直近の決算期末時点の国内開発品目（P I～Ⅲ、申請準備、申請中、承認を含む）

※2 平成25年9月25日中医協・薬価専門部会、日薬連意見陳述資料スライド8の薬剤貢献度が低い疾患およびそれらに類する疾患を対象とした医薬品
既存の治療では十分な効果が得られない疾患、例えば難病などを対象とした医薬品

2. 上記開発品目に係る国内開発費の状況

開発費 総額	要望対応品目【A】 に該当する品目に 係る開発費 (【B】に該当する品目含む)	真に医療の質の向上に 貢献する医薬品【B】 のみに該当する品目に 係る開発費
422.4	63.1	359.3

単位：億円

※ 各社直近の決算期末まで1年間の当該開発品目の国内開発に関連した以下の費用の概算

試験・申請費用実費（外部委託費など試験にかかる費用全てを含む）、人件費（研究開発部門及び薬事部門）、等

【参考】 総開発要請件数「0件」35社の開発状況

- 8社から公募品目へ手上げ（疾病名）

抗癌剤静脈内投与による血管外漏出、N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症、アレルギー皮膚テスト、気管支喘息の診断、高アンモニア血症の改善、褐色細胞腫、ADA欠損症に対する酵素補充療法、早産児動脈管開存症

- 学会から要望された医薬品の開発、または既に承認済

- 新たにオーファン治療薬の開発に着手

【参考】未承認薬・適応外薬に関する開発要請先企業の指定の考え方

第17回 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議(H25.10.7) 参考資料 4-2

開発要請先企業の指定の考え方について

- 要望された適応外薬については、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請

- 要望された未承認薬については、
 - 1 既に開発を行っている企業があれば、当該企業に対して要請
 - 2 1以外の場合で、海外で先発医薬品として承認を取得している企業が特定され、その日本法人企業が存在する場合には、当該企業に対して要請
 - 3 1及び2以外の場合で、わが国での開発権を有することが確認された企業があれば、当該企業に対して要請
 - 4 1～3以外の場合は、開発企業を公募

- 要望された剤型追加については、
 - 1 わが国において新たに追加される剤型と同じ投与経路の製剤について、先発医薬品として承認を取得している企業に要請
 - 2 1以外の場合は、未承認薬の場合と同様の考え方で要請又は公募

【参考】 未承認薬等開発支援センターの役割

2009年に製薬協が設立した「未承認薬等開発支援センター」は、企業の受け皿のない医薬品の開発支援など、業界全体としての未承認薬・適応外薬への対応において、大きな役割を果たしている。

