

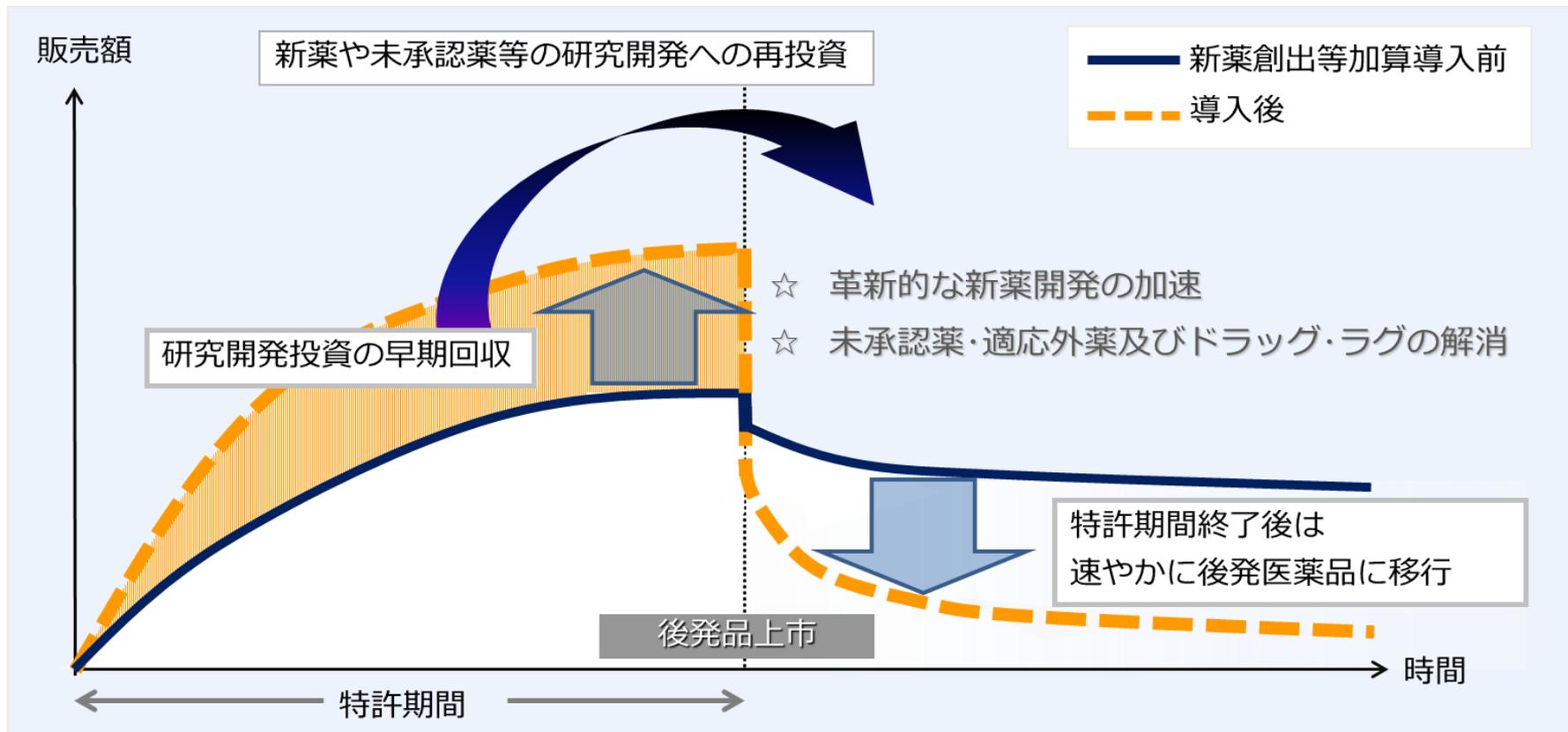
新薬創出・適応外薬解消等促進加算 (新薬創出等加算) について

中央社会保険医療協議会
薬価専門部会

2015年11月11日

専門委員 加茂谷佳明
土屋 裕

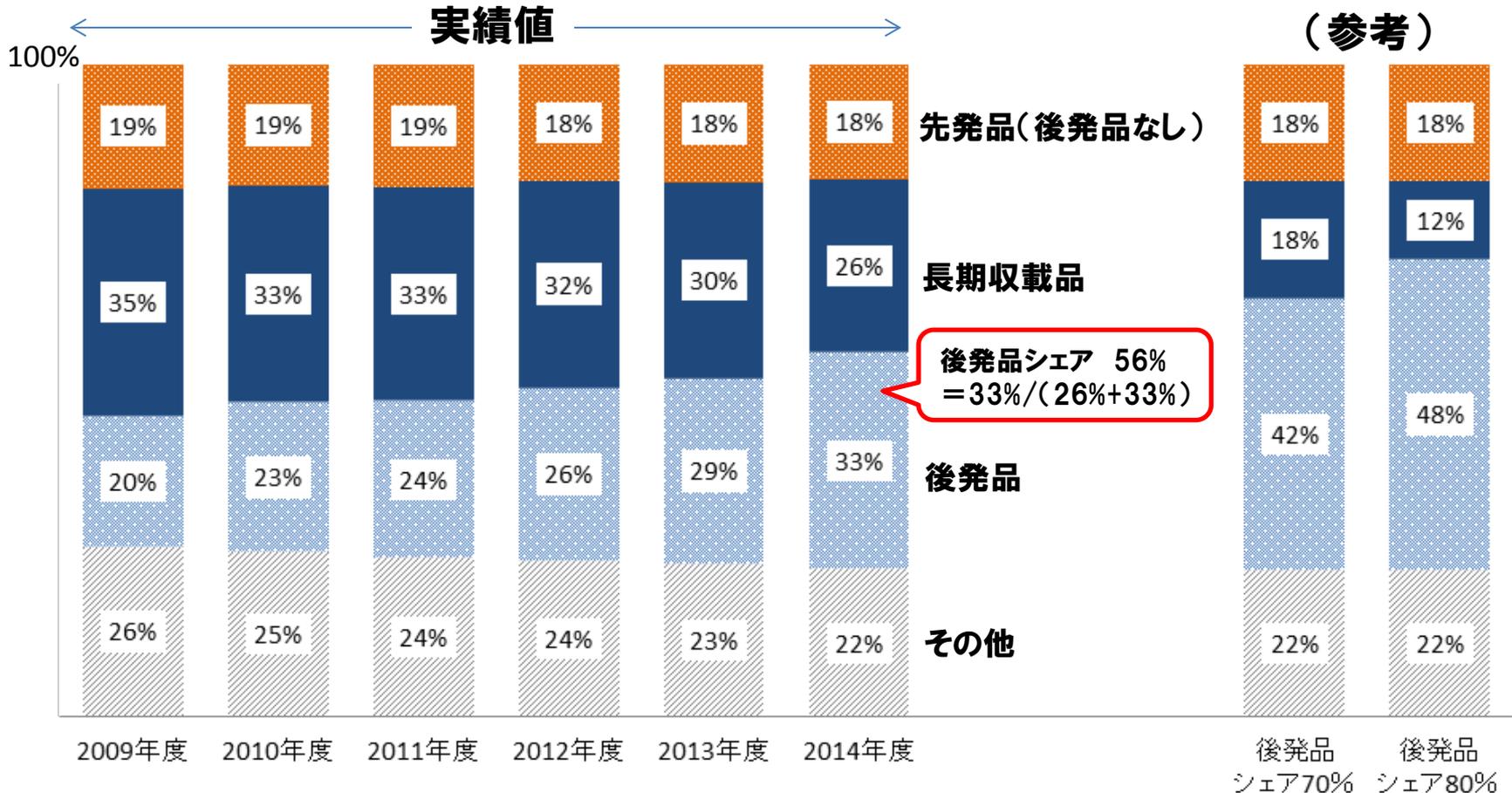
『新薬創出・適応外薬解消等促進加算』のコンセプト



- 特許期間中に前倒しして研究開発投資を回収し、ハイリスク・イノベーションに挑戦
- 特許満了後は、後発品使用により薬剤費の効率化
- 新薬や未承認薬等の開発が促進され、患者の利益につながる

カテゴリー別 数量ベース売上構成比

- 長期収載品の数量は年々減少、特に2014年度は後発品への置換えが加速
- 今後、後発品シェアが80%となれば、長期収載品シェアは現状の半分以下となる



*1 IMS Base JPM (剤形・規格別に算出)、シェアは小数第1位を四捨五入して記載

*2 先発品(後発品なし)のうち、同年度および翌年度に長期収載品となった場合、長期収載品として分類

*3 後発品シェア70%、同80%は、「先発品(後発品なし)」及び「その他」の数量シェアを固定した参考値

革新的新薬の創出とドラッグ・ラグ解消に向けた取り組み

- 製薬企業は未承認薬・適応外薬やドラッグ・ラグの問題に取り組むとともに、革新的な新薬創出のために、基礎・応用研究及び臨床開発に積極的に取り組み、継続的な研究開発投資を行っている

【現在】の課題に対する取り組み

⇒課題を解決

〈未承認薬・適応外薬の解消〉

【未来】に向けた取り組み

⇒取り組みを継続・拡大

〈ドラッグ・ラグの未然防止〉

〈革新的新薬の創出〉

日本発の新薬創出に向けた研究開発投資

アンメット・メディカル・ニーズの高い領域の新薬創出・開発への挑戦

開発要請・公募品目への即時対応

未承認薬等開発支援センターの運営・活用

国内開発への早期着手

国際共同治験、世界同時開発の推進

バイオ医薬品等の新たな技術の開発

最先端技術(iPS細胞、京)の応用

疾患関連遺伝子情報の応用

新薬創出等加算の成果 1

【ドラッグラグの解消と未然防止】

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89社（加算額なし6社、非会員企業7社含む）に調査票を送付し、86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	□□□					○	○		○

注）「開発費」の回答集計において、

◆◆◆と△△△は、要望対応品目に○が付されているので【A】としてカウント

■ ■ ■は、要望対応品目に○が付されていないため【B】としてカウント

2015年度 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、世界同時開発も継続して多数進められている。
- 上記の医薬品の国内開発に、年間約3,100億円を投資している。

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	①小児	②オーファン (※2)	③アンメット ニーズ対応品 (※3)	④新規作用 機序品	⑤その他 (新たな投与形 態、等)	世界同時 開発品目
813	95	49	107	202	288	458	223	340

- ※ 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 指定難病を含む
 ※3 薬剤貢献度、治療満足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、例えば指定難病以外の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
3,119.2	289.0	2,830.2

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

2013年度 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

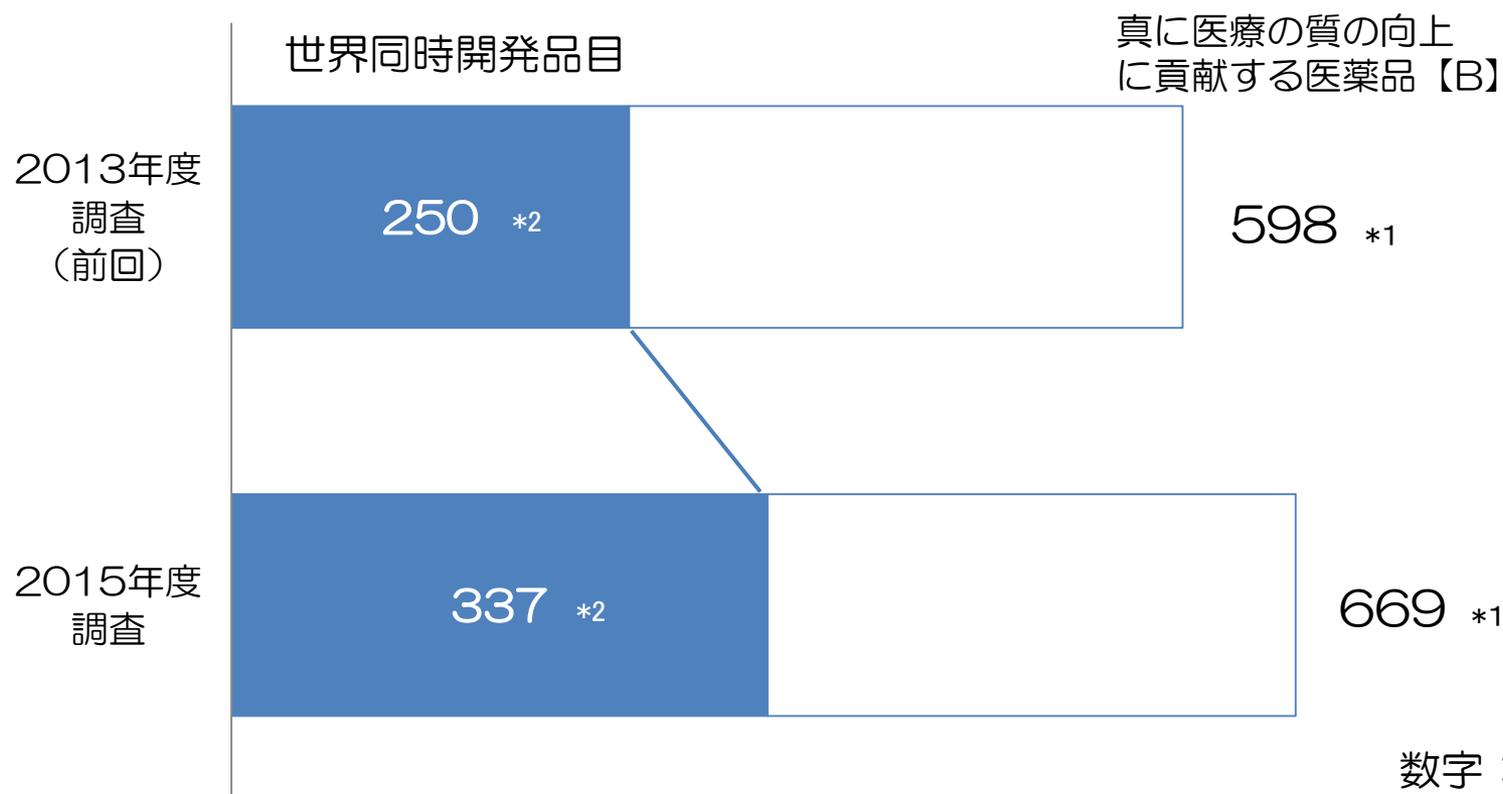
単位：億円

※ 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

「世界同時開発品目」の状況

- ・ 真に医療の質の向上に貢献する医薬品のみ該当した品目において、「世界同時開発品目」の割合は半数を超えており、将来の「未承認薬」の発生を未然に防ぐ取組みが進んでいる。



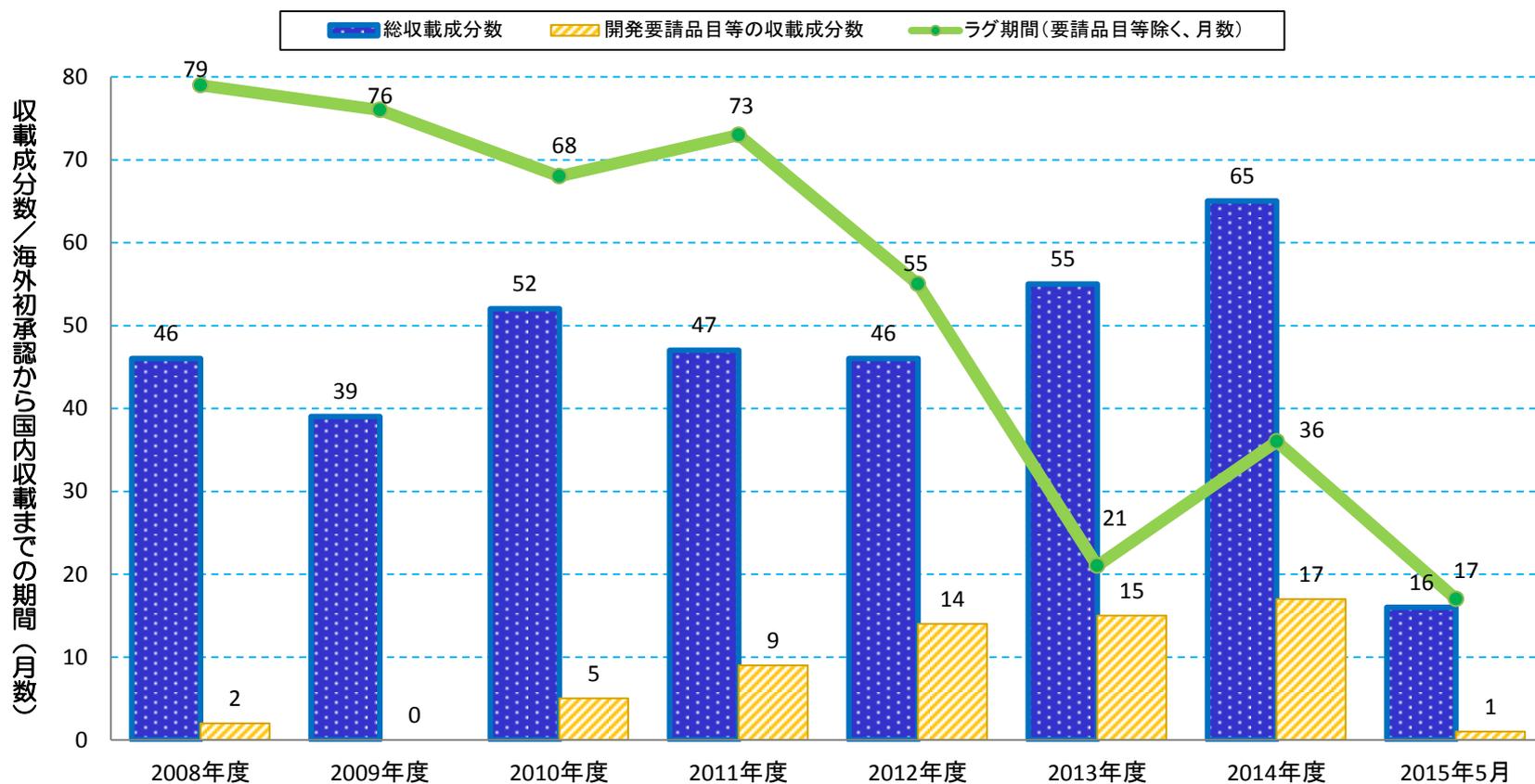
*1 「真に医療の質の向上に貢献する医薬品」【B】の品目数

=「国内開発全品目」の品目数-「要望対応品目」【A】の品目数(「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」)

*2 *1のうち「世界同時開発品目」数

新薬の薬価基準収載成分数と国内外ラグ期間の推移

- 海外初承認から国内における薬価収載までの期間は短縮傾向にある
- 開発要請された未承認薬の薬価基準収載成分数は着実に増加している



↑
新薬創出等加算試行導入

「先駆け審査指定制度」について

厚生労働省は、平成27年8月に指定申請があった50品目の医薬品について評価を行い、10月27日付けで以下の6品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として初めて指定。

「先駆け審査指定制度」とは、平成26年6月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂2014を踏まえて導入したもの。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたもの。

通常の新医薬品の場合、12か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用することで、審査期間の目標をこれまでの半分の6か月に短縮することが可能になる。

【対象品目】

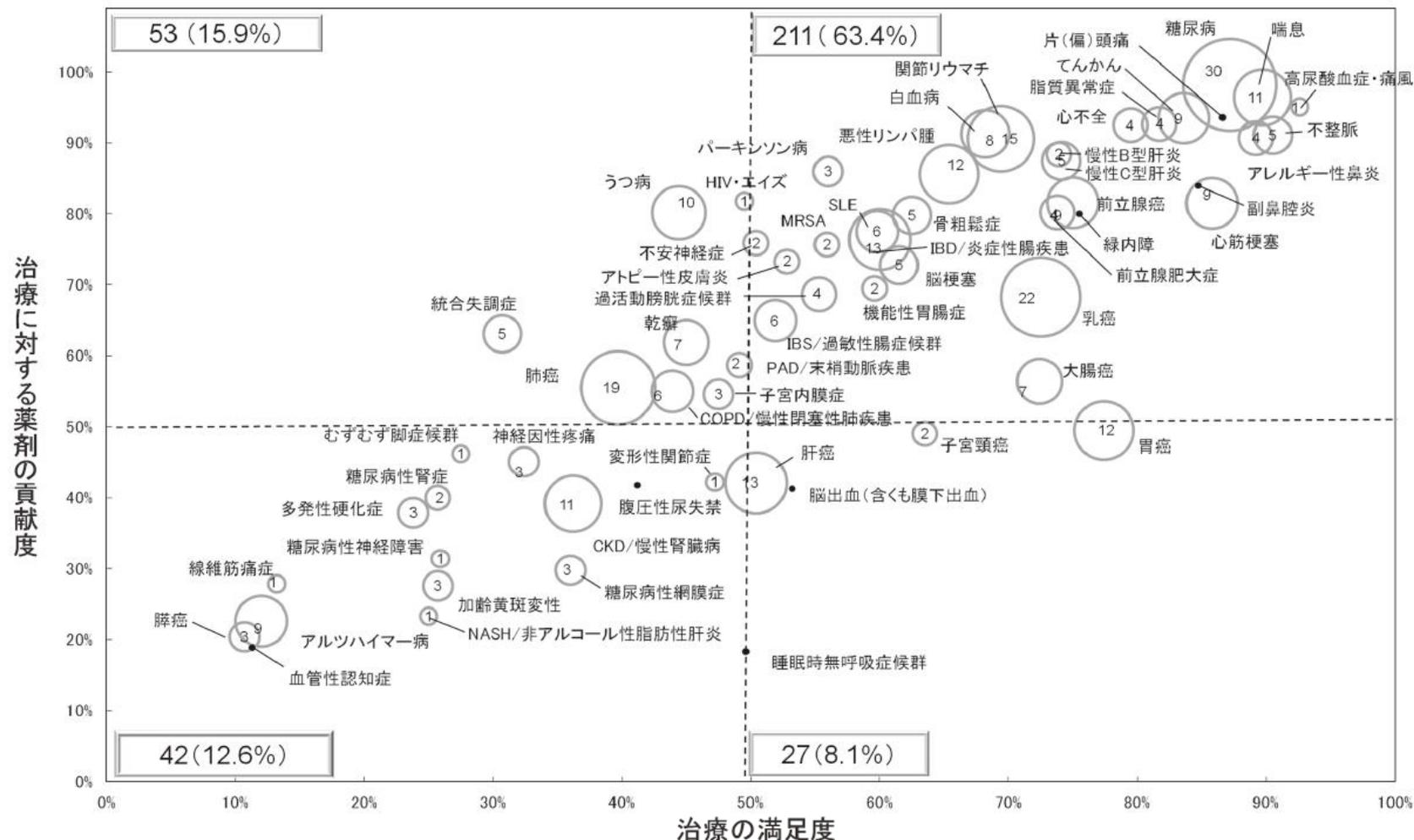
医薬品の名称	予定される効能または効果	申請者の氏名または名称
シロリムス (NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ株式会社
NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	日本新薬株式会社
S-033188	A型またはB型インフルエンザウイルス感染症	塩野義製薬株式会社
BCX7353	遺伝性血管浮腫 (HAE) の患者を対象とした血管性浮腫の発作の管理	株式会社Integrated Development Associates
ASP2215	初回再発または治療抵抗性のFLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	アステラス製薬株式会社
ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	MSD 株式会社

新薬創出等加算の成果2

〔 医療の質の向上に貢献
革新的新薬の研究・開発 〕

【未来】に向けた取り組み〈革新的新薬の創出〉 -新たなアンメット・メディカル・ニーズに対する取り組みを継続-

治療満足度・薬剤貢献度(2010年)別にみた新薬開発件数(2013年1月時点)



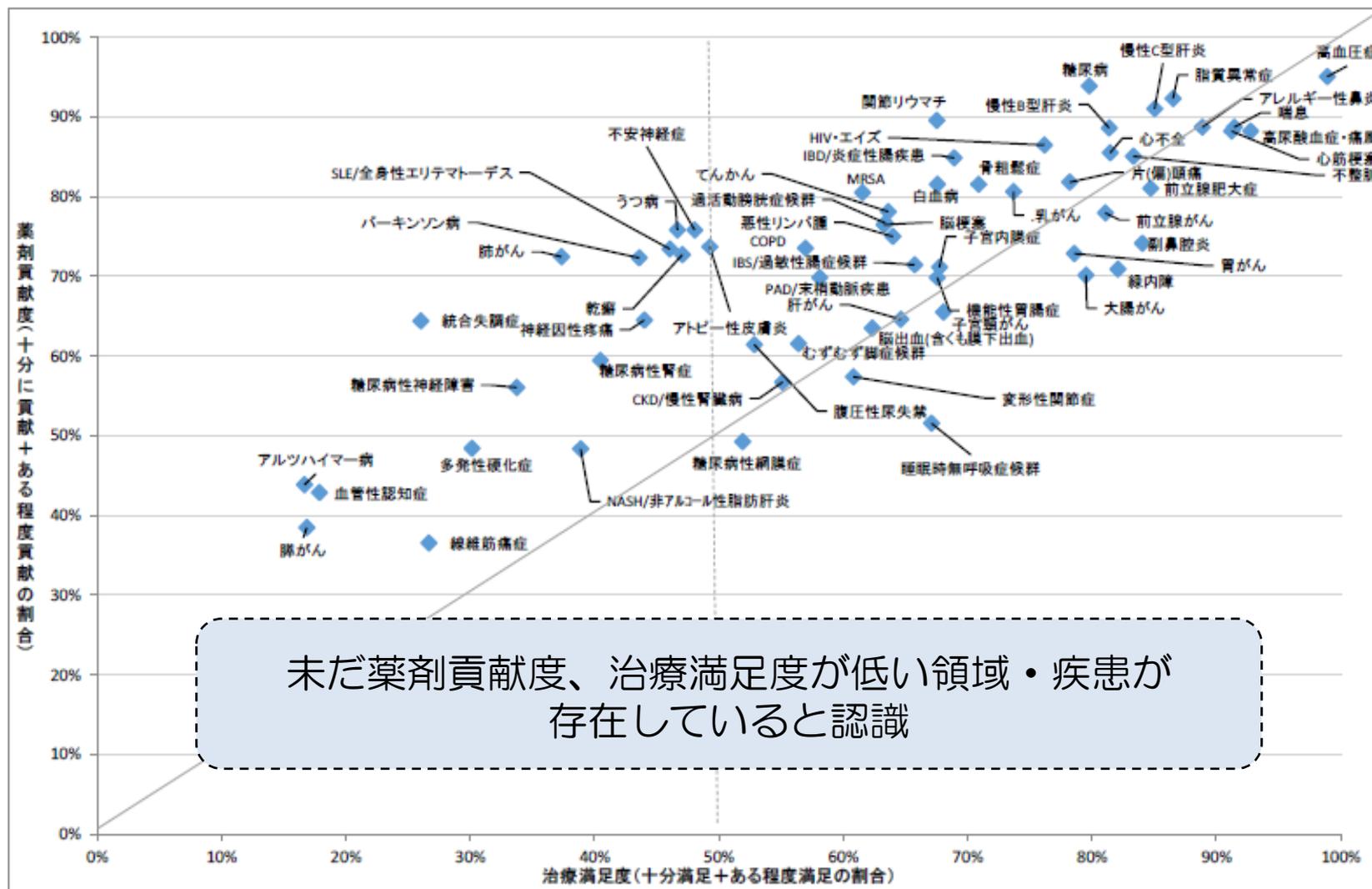
注: 2012年度国内医薬品売上高上位20社について、2013年1月時点でPhase I ~ 申請中の開発段階にある新薬(新有効成分含有医薬品及び新効能医薬品)のうち、2010年度の治療満足度調査の対象となった60疾患に関連する333件を対象としている((財)ヒューマンサイエンス振興財団「平成22年度国内基盤技術調査結果報告書-2020年の医療ニーズの展望-」の調査結果および各社公表資料をもとに作成)

出典: 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認・開発状況」政策研ニュースNo.38(2013年3月)

治療満足度と薬剤貢献度（2014年度）

選定された60疾患に対する薬剤貢献度及び治療満足度は上昇傾向

図表 3-4-1 治療満足度（十分満足+ある程度満足の割合）と薬剤貢献度（十分に貢献+ある程度貢献の割合）



最近の希少疾病用医薬品指定状況 (2014年～2015年5月時点)

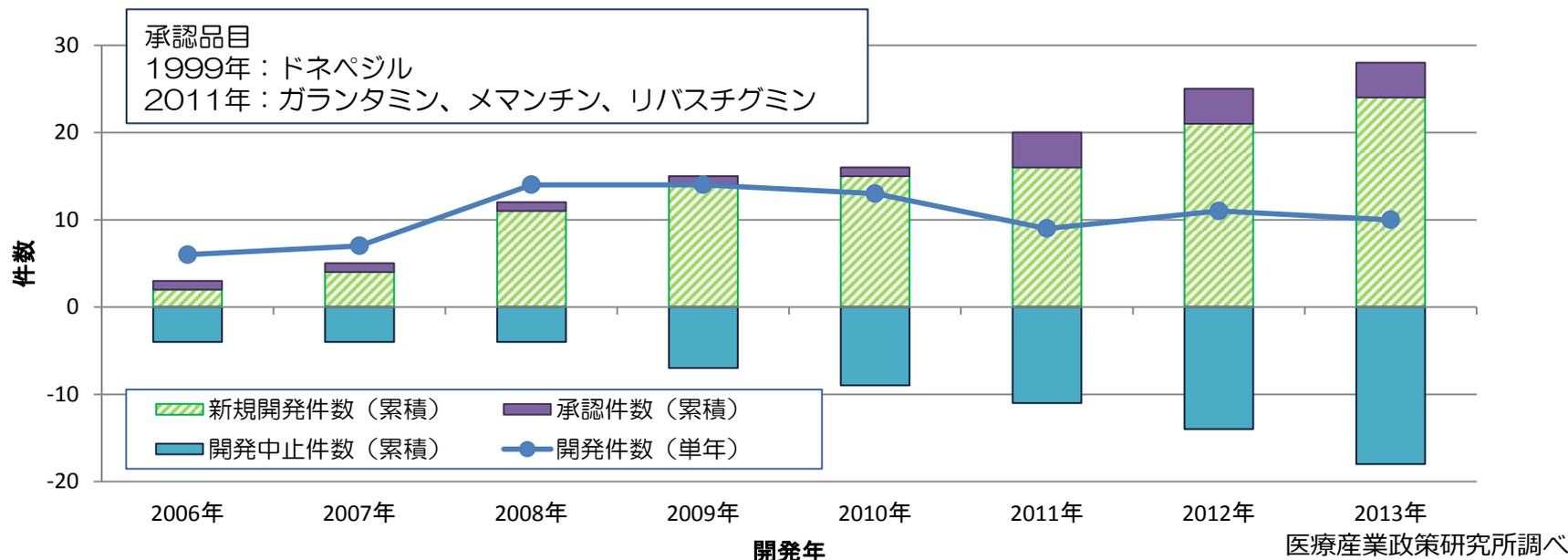
指定を受けた又は予定される効能・効果又は対象疾病	製造販売承認を受けた品目	指定を受けた又は予定される効能・効果又は対象疾病	製造販売承認を受けた品目
1 顕微鏡的多発血管炎における神経障害の改善 (ステロイド剤が効果不十分な場合に限る)		17 トランスサイレチン家族性アミロイドポリニューロパチー	
2 末梢性T細胞リンパ腫		18 多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制	
3 化学放射線療法又は放射線療法後の局所遺残再発食道癌	●	19 低ホスファターゼ症	
4 骨髄異形成症候群に伴う貧血	●	20 肺動脈性肺高血圧症	
5 リー脳症		21 點頭てんかん	
6 先天性血液凝固第XIII因子Aサブユニット欠乏患者における出血傾向の抑制	●	22 悪性黒色腫における術後補助療法	●
7 メバロン酸キナーゼ欠乏症		23 クロウ・深瀬症候群	
8 TNF受容体関連周期性症候群		24 NMO-IgG陽性の再発性視神経脊髄炎 (NMO) の再発抑制	
9 家族性地中海熱		25 網膜色素変性	
10 血液凝固第VIII因子又は第X因子に対するインヒビターを保有する患者の出血抑制	●	26 成人、および小児 (新生児を含む) に対する心臓手術の術前、術中および術後における、肺動脈圧低下、右室機能改善および肺の酸素化改善を目的とした肺高血圧の治療	
11 遺伝性血管性浮腫の急性発作		27 短腸症候群	
12 慢性リンパ白血球病、小リンパ球性リンパ腫、マントル細胞リンパ腫		28 下記疾患が関与すると考えられる血中アンモニア濃度の上昇抑制 N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症、イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症	
13 大型血管炎		29 難治性全身型重症筋無力症	
14 悪性軟部腫瘍		30 全身性強皮症に伴う皮膚潰瘍	
15 再発又は難治性の多発性骨髄腫	●	31 褐色細胞腫におけるカテコールアミン分泌過剰状態の改善並びにそれに伴う諸症状の改善	
16 後天性血栓性血小板減少性紫斑病		32 下記のABO血液型不適合移植における抗体関連型拒絶反応の抑制 腎移植、肝移植	

出所：国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所

＝スライド14：ヒューマンサイエンス振興財団の調査対象以外の疾患

アルツハイマー病の治療薬の開発中止件数は多く、開発は非常に困難である。製薬企業はアンメット・メディカル・ニーズを満たすために更なる新薬開発のための研究を続けている。

アルツハイマー病に関する新薬の開発件数の推移



アルツハイマー病の開発品目の内訳

作用機序	開発件数 (うち新規開発件数)	技術分類
抗アミロイドβ抗体	4(2)	バイオ
β-セクレターゼ阻害	2(1)	低分子
5-HT _{2A} 拮抗/5-HT _{1A} パーシャルアゴニスト	1	低分子
α7ニコチン性アセチルコリン受容体(α7 nAChR)アゴニスト	1	低分子
モノアミンオキシダーゼB (MAO-B) 阻害	1	低分子

(国内医療用医薬品売上上位20社における2015年5月時点での調査)

新薬創出等加算ルールの維持・継続

- 新薬創出等加算のコンセプトは、特許期間満了後は後発品への置換えが進むことを前提として、薬価引下げの一時的猶予により前倒しで得られる特許期間中の新薬の収益を研究開発に再投資することで、革新的新薬の創出を加速させるとともに、未承認薬・適応外薬やドラッグ・ラグの解消を実現させるというものである。
- 国内研究開発は、新薬創出等加算の試行的導入により目指した姿へ着実に向っており、企業は次の革新的新薬を開発するための投資を継続している。
- 将来の「未承認薬」を未然に防止し得る「世界同時開発」品目が増加しており、世界に先駆けて革新的新薬の国内開発を進めていることを示す一例として、「先駆け審査指定制度」に50品目が申請した（うち6品目を指定）。



- 後発品使用促進の伸長によって新薬のライフサイクルが本加算のコンセプトで示した姿へと着実に向かっている状況や、後発品への置換えの更なる加速が求められていることを踏まえ、特許期間中の新薬から研究開発原資の確実な確保が可能となるよう、新薬創出等加算は現行の要件のまま維持・継続すべきである。

革新的新薬の創出とドラッグ・ラグ解消に向けた取り組み

- 製薬企業は未承認薬・適応外薬やドラッグ・ラグの問題に取り組むとともに、革新的な新薬創出のために、基礎・応用研究及び臨床開発に積極的に取り組み、継続的な研究開発投資を行っている

【現在】の課題に対する取り組み

⇒課題を解決

〈未承認薬・適応外薬の解消〉

【未来】に向けた取り組み

⇒取り組みを継続・拡大

〈ドラッグ・ラグの未然防止〉

〈革新的新薬の創出〉

日本発の新薬創出に向けた研究開発投資

アンメット・メディカル・ニーズの高い領域の新薬創出・開発への挑戦

開発要請・公募品目への即時対応

未承認薬等開発支援センターの運営・活用

国内開発への早期着手

国際共同治験、世界同時開発の推進

バイオ医薬品等の新たな技術の開発

最先端技術(iPS細胞、京)の応用

疾患関連遺伝子情報の応用