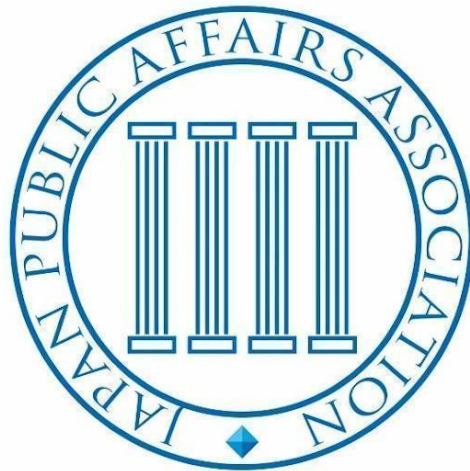


# 新薬のイノベーション向上のための創薬エコシステム構築 と医療保険財政の健全性確保の両立に向けた提言

～グローバルな創薬エコシステムにおける日本のプレゼンス向上のために～



一般社団法人 日本パブリックアフェアーズ協会

監修：慶應義塾大学大学院経営管理研究科 教授 中村 洋

2025年3月18日

# 目次

要旨 .....	2
第1章 我が国が抱える課題 .....	4
1. 前提の整理：課題先進国としての日本 .....	4
2. 本稿の目的：国民皆保険の維持とイノベーション評価の両立へ向けて .....	5
第2章 課題の要因分析と目指すべき方向性 .....	7
1. 日本における創薬力の強化 .....	7
(1) 背景と分析 .....	7
(2) 目指すべき方向性 .....	8
2. イノベーションの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立 .....	14
(1) ドラッグ・ラグ/ロスの解消 .....	14
(2) 適正な薬価と適正使用の拡大 .....	19
第3章 まとめ（提言） .....	29



## 要旨

2020年前後のコロナウイルス感染拡大における日本のワクチン開発の遅れは、社会に大きな危機意識を抱かせる転換点となった。本稿では、我が国が創薬力の低下に加えて、サプライチェーンにおける高い海外依存、さらに、ドラッグ・ラグ/ロスという課題を乗り越え、国民の健康を守るという国家の大きな役割を果たすとともに、国際的な創薬エコシステムやサプライチェーンの中で日本の存在感を高めていくための方策について検討する。その上で、日本における創薬力の強化、国民・患者の医薬品へのアクセスを安定的に確保するためのイノベーションへの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立について以下のとおり提言を行う。

### 1. 日本における創薬力強化と国際的サプライチェーンにおける存在感向上

#### (1) 10年単位での中長期的で戦略的な取り組み（産業政策）の実施

日本はこれまで低分子創薬に強みを有し国際的に見て高い競争力を誇っていたが、世界の新薬開発の中心が高分子創薬に移るにしたがって、日本の創薬力は相対的に低下した。創薬力を短期間で劇的に引き上げることは困難であり、中長期的で戦略的な取り組み（産業政策）を行うことが求められる。

#### (2) 「モノづくり」を核とした日本独自の特徴のある創薬エコシステム構築による海外との棲み分けと連携

海外のエコシステムとの役割分担による棲み分けを通じて日本の存在感を向上させるべきである。日本が比較優位を持つ「モノづくり」の分野への支援として、最先端テクノロジーに基づく製造施設誘致やCDMO（医薬品開発製造受託機関）・CMO（医薬品製造受託機関）による産業の裾野拡大が求められる。また、製薬企業と、例えばロボット技術などの異業種企業との連携、中長期的な人材育成等も必要である。

日本における製造の拡充は、医薬品における貿易赤字の縮小につながるだけでなく、地方に製造拠点を誘致することで地方創生に貢献することが期待される。

#### (3) 海外の経営資源を活用した日本発のベンチャー企業育成

日本発のベンチャー企業育成のため、海外のエコシステムと連携し、国外の資金、人材、ネットワークなどの経営資源を活用する動きを強化し、将来的にその資源の一部を日本で代替できるように、国内経営資源の蓄積を進めることが求められる。

#### (4) 政府の経済的支援における成果主義の導入

日本への投資が不利にならないような政府の経済的支援を行い、その一方で、税制・補助金等の経済的支援を受けた企業がモラルハザードを起こさないように、政府が一定の目標を掲げ、成果を達成した企業に対して追加的インセンティブを提供する等の仕組みを強化するべきである。

### 2. イノベーションへの評価向上と医療保険財政の健全性維持・向上の両立

#### (1) ドラッグ・ロスについての詳細な分析と広報の強化、ラグ解消のための、承認申請までのプロセスの迅速化

具体的にどのような医薬品でドラッグ・ロスが発生しているのか詳細な分析を進めるほか、海外の中堅のバイオテック企業に対して日本の制度を正確に理解してもらうための広報を強化するべきである。企業が承認申請するまでの遅れ（ドラッグ・ラグ）については、日本における治験の活性化のみならず、承認申請までのプロセスを迅速化することが求められる。

#### (2) 原価計算方式の見直しと対象の更なる限定

類似薬がないほど革新的な医薬品に適用される原価計算方式は、医薬品開発手法の変化で導入が増えるなどの要因で原価を把握すること自体が困難になっている中で、原価の開示率に応じた減額

制度がイノベーションへの評価を阻害しているなど課題が多い。現在の仕組みの見直しを検討し、費用対効果評価の手法等を活用して原価計算方式の対象となる医薬品の範囲をより限定することが望ましい。

### (3) 迅速な保険収載を維持した費用対効果評価の更なる活用

我が国では、費用対効果評価は当該品目の有効性・安全性に関する治験データに基づく薬価算定・保険償還の後に行われ、価格調整のみに活用されているところ、患者の医薬品アクセスの観点から当該運用は維持するべきである。費用対効果評価の活用拡大については、「費用増加」（効果が同等で費用が増加）と公的に評価された品目や対象患者群への処方制限のほか、逆に評価対象の品目が「ドミナント」（効果が高く費用が削減）あるいは「費用削減」（効果が同等で費用が削減）とされた場合には、その比較対照となった品目・対象群への処方制限の設定等も検討が求められる。また、費用対効果が高いと評価された品目については、価格を引き上げる等の仕組みも検討されるべきである。

### (4) 薬価制度と費用対効果評価制度の整合的運用

費用対効果評価で QALY（質調整生存年）に反映されないイノベーションが評価されない、比較の方法が異なるといった要因から、薬価算定時に認められたイノベーション評価が費用対効果評価で帳消しとなり低い価格になってしまうケースが増加している。制度間の整合性の欠如と捉えられかねないだけでなく、企業の予見性、ひいては日本の医薬品市場の魅力にも悪影響を与えるため、両制度の運用は整合的に行うことが必要である。

### (5) 開発コスト削減・開発期間短縮への支援

総合的な企業経営の観点からは、早期の上市による販売期間の拡大やコストの圧縮は、投資の回収等の経済的利益が見込まれる。そうした開発インセンティブ向上につながる政府の支援が求められる。AI 創薬や治験データベース構築の推進は開発期間の短縮やコスト低減につながるほか、早期の医薬品開発・上市によって、患者の革新的な医薬品へのアクセスの改善も期待できる。

### (6) 量の適性化・他の薬剤費の適性化

イノベーションへの評価向上は必要であるが、既存の比較的安価な医薬品では十分な有効性・安全性が期待できない患者群に限定して使用するなど、量の適正化と一体で運用すべきである。

また、イノベーションの評価向上のためには、原資を確保することが求められる。具体的には、長期収載品の薬価引き下げ、ジェネリック医薬品の更なる浸透、過度な多剤併用／抗菌薬使用の抑制、適切なセルフメディケーションの推進などで、他の薬剤費の適正化と一体で薬剤費増加を適切に抑制する必要がある。

### (7) 薬剤費の変化へのゾーンの設定による予見性の向上

開発企業のみならず、企業と医療保険財政双方にとっての予見性向上のため、薬剤費の変化には、目安としてのゾーン制（一定幅）を設けることが考えられる。そのゾーンは名目 GDP の伸びより高く、薬剤費を除いた医療費の伸び額より低くするなど望ましい。目安として、上限を定めることで医療保険財政にとっての予見性の向上が、逆に下限を定めることで企業にとっての予見性の向上が期待される。

上記の提言によって、今後、我が国の強みを生かした独自の創薬エコシステムが構築され、グローバルな医薬品サプライチェーンにおける日本の存在感が向上することを期待する。



## 第1章 我が国が抱える課題

### 1. 前提の整理：課題先進国としての日本

現在、我が国では、出生率低下による急激な人口減少へ向けて、社会の生産性を維持し、超高齢化社会の中でもなお国民の福祉を維持し経済成長を図るための様々な議論が行われている。その一環として、社会のデジタル化、そして AI やロボティクス等の最新技術を取り入れた生産性の向上等があらゆる分野で取り組まれているが、実装に向けては従来型の法規制など乗り越えるべき壁は依然として高い。

さらに強調すべきは、国民の健康と福祉の維持・増進という、近代国家の根源的使命の一つも、高齢者人口の増加に伴う医療ニーズの増加、科学技術の向上による医療の高度化、医薬品及び医療機器産業・市場のグローバル化などといった様々な現代的要素の狭間で高度な舵取りを強いられている点である。ここではまず、この国民の健康と福祉の維持・増進という観点に立った際に、昨今特に注目される論点を整理したい。

#### 経済安全保障・医薬安全保障

政府与党の議論においては、医療用医薬品についても経済安全保障の観点が重視されていると言える。特に、コロナ禍において、我が国がワクチンを迅速に開発・供給することができず、ワクチンの確保に政府が苦慮したことは、有事において日本国が国民の健康を守るという基本的な責務を十分に果たせないことが浮き彫りになった苦い経験として記憶に新しい。このことは、現在「医療安全保障」という用語で国内的に議論がなされている<sup>1</sup>。

医療安全保障においては、必要な医薬品が日本国民に安定的かつ確実に届けられ、恩恵を得られることが重要である（「医薬安全保障」<sup>2</sup>）。特に昨今の議論では、後発医薬品の安定供給の問題とともに、最新技術に基づき開発された革新的新薬への国民のアクセスをいかに保障するか、という観点到焦点が当てられている。

#### 創薬力の向上

近年日本政府は、経済安全保障に加え産業政策としての観点からも、創薬力の向上へ向けた取組を強化している。厚生労働省の部局横断的な検討を進めるために 2022 年 8 月に設置された「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」（以下、「有識者検討会」という。）は、関係業界等からのヒアリング等を経て論点を整理し、2023 年 6 月に報告書を公表した<sup>3</sup>。有識者検討会の議論を踏まえて新たに設置された 2 つの検討会（「後発医薬品の安定供給等の実現に向けた産業構造のあり方に関する検討会」及び「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制のあり方に関する検討会」）では、後発品の安定供給や薬事規制の見直し等に関する論点を更に議論し、各検討会の議論を踏まえて様々な対策が打ち出されている<sup>4</sup>。さらに、2023 年 12 月には官邸に「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」（以下、「創薬力構想会議」という。）が設置され、5 回の議論を経て中間取りまとめが公表された<sup>5</sup>。2024 年 6 月には政府主催の「創薬エコシステム・サミット」が開催され、中間取りまとめを踏まえた政策目標と工程表が発表されるとともに、総理が海外のベンチャー・キャピタル（VC）に日本の創薬ス

<sup>1</sup> 日本経済新聞「医療安全保障、同盟の基盤に コロナ危機と日米協力」（2020 年 6 月 25 日）  
[<https://www.nikkei.com/article/DGXXKZO60728830U0A620C2KE8000/>]

<sup>2</sup> 自由民主「医薬安全保障を確立する議員連盟」が 2024 年 6 月 7 日に設立されている。日刊薬業「自民・新議連『医薬品は重要な成長産業』設立総会、薬価制度など議論へ」（2024 年 6 月 7 日付け記事）等参照。

<sup>3</sup> 厚生労働省「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報告書」（令和 5 年 6 月 9 日）

<sup>4</sup> 例えば、薬事規制に関しては、検討会で論点となった国際共同治験開始前の日本人での第 I 相試験の実施を原則不要とする見直しを行っている（2023 年 12 月 5 日医薬薬審発 1225 第 2 号）。なお、各検討会の関係性は 2024 年 2 月の厚生労働省資料[<https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001215511.pdf>]2 頁等参照。

<sup>5</sup> 内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」  
[<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/index.html>]



ターゲットアップ等への投資を呼びかけた<sup>6</sup>。

現在の創薬エコシステムはグローバルに構築されており、医薬品の開発、承認、製造など各工程のサプライチェーンは国境を越えて複雑に絡み合っている。我が国の創薬力向上のプロセスにおいても、グローバルなサプライチェーンを前提とした創薬のエコシステムの中で、シーズの研究開発、人材供給、製造（開発製造受託を含む）など、日本が担う役割を徐々に増やして行くことで、日本の存在感を高めていくことが重要である。

### ドラッグ・ラグ/ロスの解消

日本の創薬力を高め、国際市場における日本初の新薬の存在感を高めることと同時に、海外で開発された革新的な新薬を日本市場で適切に流通させるための取組も進めていく必要がある。近年、いわゆる「ドラッグ・ラグ/ロス」の問題、すなわち海外で承認されているものの日本で承認申請まで至っていない医薬品／承認されていない医薬品の存在が指摘されており、我が国の大きな課題の1つとして提起されている<sup>7</sup>。こうした状況を受け、世界的な医薬品開発において日本での開発の優先度が高まるように、日本市場の魅力向上していくための議論・対策が進んでいる。他方、ドラッグ・ラグ/ロスの現状や要因については様々な見解が存在しているところ、まずは正確に現状を分析し、関係者間で認識を共有することが先決である。

また、海外バイオテック企業に日本市場への上市を促すため、欧米諸国等と比較した場合の日本の制度の優れた点（迅速で広範な保険償還、国民皆保険、高額療養費制度など）を分かりやすくかつ正確な形で発信していくことが重要である。加えて、海外の医薬品のPMDA（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）における審査プロセスの迅速化のために、例えば人工知能（AI）等の最新のテクノロジーを活用したシステム構築なども進めていくべきであろう。

さらに、国際的な医薬品マーケットにおいて、諸外国に比肩するだけの革新的な新薬を日本市場に集めていくためには、企業の経済合理性に基づく行動を十分に理解し、グローバルに見て魅力のある薬価がつくような、薬価制度が構築されていることも必要である。

### 医療保険財政の持続可能性

他方、我が国として無視できない課題は、「魅力的」な、すなわち高額な薬価を付けることは青天井には許容できないということである<sup>8</sup>。国民皆保険制度は戦後の国民の健康を支えてきた我が国の根本となる制度であり、生産年齢人口減少・超高齢化社会が進展する中で社会保障財源の使途はますます厳格な運用が求められる。

社会保障財源の確保の必要性、そのための応能負担の徹底や医療の効率化については日本パブリックアフェアーズ協会が2021年4月に公表した提言（「国民皆保険制度を次世代に引き継ぐために～給付と負担の再構築へ向けた一考察～」）<sup>9</sup>において既に指摘したとおりである。その後も、給付と負担の再構築へ向けた社会保障制度の見直しは徐々に進んでいると見られるが、生産年齢人口の急激な減少が進む中、今後も財源の問題は常に存在し続けることが想定される。そのような中で、国民皆保険の仕組みを今後も維持するためには、必要な財源の確保に不断の努力を続けると同時に、支出先に優先順位をつけ、真に必要な医療資源に振り分けるための取り組みが求められる。

## 2. 本稿の目的：国民皆保険の維持とイノベーション評価の両立へ向けて

次期薬価制度改革へ向けてさらに上記の議論が活発になることが予想される中、本稿では、当該議論に資する観点を提供するため、政府が掲げる「創薬力の向上」及び「国民皆保険制度の持続性

<sup>6</sup> 内閣官房健康・医療戦略室「『創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議』中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表」（2024年7月）

<sup>7</sup> NHK「広がる“ドラッグ・ラグ” 小児がんで治療薬の導入遅れ 欧米と差も」（2023年1月30日 NHK NEWS WEB）  
[<https://www3.nhk.or.jp/news/html/20230130/k10013964821000.html>]

<sup>8</sup> 米国のような自由薬価の制度を我が国において直ちに採用することは現実的ではなく、そのような国民的合意形成の主だった動きも現時点では見られていない。

<sup>9</sup> 日本パブリックアフェアーズ協会「国民皆保険制度を次世代に引き継ぐために～給付と負担の再構築に向けた一考察～」（2021年4月1日）



とイノベーション推進の両立」<sup>10</sup>という困難な課題を解決するための医薬品政策、特に薬価制度のあり方を中心として、現状と課題、政府における議論、関係ステークホルダーの主張の整理等を行い、今後目指すべき方向性について提言を行うこととする。

課題先進国である日本がこうしたハードルを官民連携により乗り越えていく経験は、近い将来に他の先進諸国ならびに発展途上国も同様の課題に直面するであろうことを踏まえれば、世界に先駆けて解決策を提示し、もって国際社会へ貢献していくことにつながることを期待される。

---

<sup>10</sup> 岸田総理大臣（当時）による第 211 回国会衆議院本会議第 3 号令和 5 年 1 月 26 日の答弁、厚生労働省「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第 123 回）資料）等参照。



## 第2章 課題の要因分析と目指すべき方向性

本項目では、現在我が国が抱える課題のうち、特に日本における創薬力の強化、イノベーションの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立といった医薬品政策に関する課題について、その背景をより詳しく分析していくこととする。その上で、目指すべき方向性について検討する。

### 1. 日本における創薬力の強化

#### (1) 背景と分析

##### 創薬力低下の現状

日本の創薬力低下に関しては、日本発の新薬の数の減少という形でデータに現れている。例えば、世界の売上上位 300 品目における国内製薬企業の創製品目数は、1991 年に 53 品目であったが、2021 年には 24 品目にまで半減し、今後も減少を続けると予想されている<sup>11</sup>。一方で、我が国が海外から購入する医薬品は増加しており、貿易赤字額は膨らみ続けている（2022 年の輸入超過額は約 4.6 兆円）<sup>12</sup>。

##### 成長産業としての高い潜在力

医薬品産業は本来成長産業であり、我が国の研究機関が有する高い研究開発力から生み出されるシーズ、モノづくり産業の経験値の蓄積等を十分に活用することができれば、日本経済を牽引し得る潜在力を秘めている分野である。グローバルに構築されている医薬品の創薬エコシステムにおいて、研究開発・製造拠点機能等、日本が担う部分を増やして行くことで存在感を高めることは十分可能と考えられる。

他産業の例を見れば、例えば、半導体分野においては、米国、台湾、韓国が近年急速にシェアを拡大しているが、製造装置産業における日本企業の存在感は依然として大きく、半導体製造サプライチェーンにおいて不可欠な存在となっている<sup>13</sup>。

また、航空分野においては、世界の主要な航空機の機体には日本由来の部品が多く使われており、米ボーイング社の最新型航空機における生産分担比率は年々上昇している<sup>14</sup>。同社は日本の高い技術力を踏まえ、開発製造分野において国外最大級の拠点を日本に構えている。自動車産業、航空機産業と並んで、製薬産業にも技術波及効果が期待され、国家の経済的成長を牽引し得る分野である。さらに、日本の医薬品産業は従来から個々の部品のみならず完成品製造事業者（完成品メーカー）が存在する分野であるため、国家の経済成長において航空機産業以上の潜在力を有していると言える。

##### 創薬力低下の要因

日本の創薬力が低下した背景としては、創薬モダリティ（医薬品に使われる技術）の変化が最も大きい要因と考えられる。すなわち創薬の中心が低分子医薬品からバイオ医薬品などの高分子医薬品に移っていく中で、従来から培ってきた低分子創薬における日本の強みが十分発揮できなくなっていった。創薬モダリティの変化に日本が追い付いていけない中、欧米の製薬大手企業も日本の研究所を閉鎖するなど、「日本離れ」の現象が起きていったのである<sup>15</sup>。

また、グローバルな医薬品市場の中でバイオ医薬品の割合が増す中<sup>16</sup>、欧米諸国ではアカデミア発のシーズをバイオテック企業がリスクを取って開発するなど、スタートアップ企業が中心的な役割

<sup>11</sup> 間野博行「世界と日本の創薬の現状」（2023年12月27日創薬力構想会議資料）

<sup>12</sup> 産経新聞「医薬品の輸入超過続く 貿易赤字最大 魅力なき国内市場」（2023年4月20日付け記事）

<sup>13</sup> 経済産業省商務情報政策局「半導体・デジタル産業戦略」（令和5年6月）22頁

<sup>14</sup> 例えば、767型機で16%、777型機では21%である。ボーイングジャパン「Made with Japan 日本とともに」、同社ウェブサイト[<https://www.boeing.jp/boeing-in-japan/about-boeing-japan>]等参照。

<sup>15</sup> 増田耕太郎「最近の外資系企業の研究開発拠点投資の特徴」（2013年、国際貿易と投資 No.94）

<sup>16</sup> 間野博行「世界と日本の創薬の現状」（2023年12月27日創薬力構想会議資料）4頁





を果たしてきたが、日本では、アカデミアのシーズを開発するバイオテック企業が十分育たなかったことも、日本における創薬力の低下に拍車をかけたと言える<sup>17</sup>。

低分子創薬で培った技術や経験を創薬モダリティの変化に上手く応用できなかったこと、そしてバイオテック企業が十分に育たなかったことに加えて、日本市場の国際市場における相対的な魅力の低下等の要因が複合的に絡み合い、現在の状況が生まれていると言える。

## 日本政府の動き

近年、政府・与党は我が国の創薬力強化に向けた動きを活発化させている。自由民主党「創薬力の強化育成に関するプロジェクトチーム」は、2023年5月に創薬エコシステムの育成支援やサプライチェーンの強靱化を主な内容とする提言を公表した<sup>18</sup>。2023年9月には、創薬の推進に向けた政府の司令塔として内閣官房の体制が強化され<sup>19</sup>、創薬力構想会議における中間取りまとめを経て、2024年7月の創薬エコシステムサミットでは具体的な政策目標や工程表とともに世界有数の創薬の地となること等を戦略目標として掲げた。さらに、2027年度を目標として新薬研究開発拠点を国内に整備するとしている<sup>20</sup>。

こうした創薬力強化の取組は、我が国の産業政策の観点のみならず、安全保障の観点からも重要である。関係する企業の資本の内外、または大企業かスタートアップかといった規模の大小を問わず、あらゆるステークホルダーが一丸となってその目標へ向けて進んでいく必要があり、社会保障を含めた根本的な制度改革へ向けて国民による広い合意形成も求められるだろう。

## (2) 目指すべき方向性

### 内需に依存しない国際競争力の向上

我が国の創薬力が向上し、より多くの日本発の新薬が生み出されるようになれば、そうした新薬は日本で処方されるのみならず、グローバルなサプライチェーンを通じて世界各国の市場にも流通していく。創薬力の向上のための施策を進める上で重要なのは、国内産業振興のための改革を行う中で、内需に依存しない国際競争力の向上を意識することである。すなわち、我が国が現在直面している課題である、人口減少ならびに厳しい医療保険財政を考えれば、日本国内の内需の大きさに頼った産業政策は困難であることは明白である。今やグローバルな繋がりの中で構築されている創薬エコシステムの中で、日本の存在感を高めていくための方策を検討するべきであろう。

例えば、内需に依存せずに国内産業の国際競争力を高めたケースとして、台湾、韓国の半導体産業が例に挙げられる。現在輸出産業が経済を牽引する台湾では、1960年代からの工業化において政府が半導体産業を主導し、国内企業の育成に力を入れた。優秀な学生を米国に留学させ、帰国後は米国シリコンバレーとの深い人脈を生かして同国のニーズを把握したビジネスを展開した。韓国も同時期に工業化を進め、財閥中心にメモリー産業を育成し、半導体技術の大本を握る米国、台湾と韓国を中核としたグローバルなサプライチェーンが構築されている<sup>21</sup>。また、国内の人材育成や税制改革によって諸外国から投資を呼び込んだ例として、アイルランドの医薬品製造産業の例も大いに参考になる。アイルランドには、世界の製薬企業上位10社の全てが拠点を置いており、世界の医薬品売上上位10製品のうち6製品が同国で製造されている。その背景には、同国の高い教育水準と熟練した労働力、研究開発支援への戦略的投資や税制優遇措置といった医療製品のイノベーション拠点としての理想的な環境が整っていることが大きく影響している。同国政府は、2020年のイノベーション戦略において科学研究に重点を置き、医薬品・医療機器の規制当局は5つの重要

<sup>17</sup> 経済産業省「バイオ創薬は世界で勝負。製薬トップと日本の戦略を考える」（2022年12月1日）

[<https://journal.meti.go.jp/24569/>]

<sup>18</sup> 自由民主党政務調査会・社会保障制度調査会「創薬力の強化育成に関するプロジェクトチーム 提言」（2023年5月30日）[<https://www.jimin.jp/news/policy/205935.html>]

<sup>19</sup> 朝日新聞「創薬推進へ官邸主導の司令塔 有望分野を「目利き」、狙いは認知症？」（2023年9月23日付記事）

[<https://www.asahi.com/articles/ASR9Q5PXQR81UTFK01D.html>]

<sup>20</sup> 読売新聞「創薬力強化へ新薬の研究開発拠点…海外新興企業を呼び込み、「ドラッグロス」解消図る」（2024年8月23日付記事）[<https://www.yomiuri.co.jp/medical/20240823-OYT1T50084/>]

<sup>21</sup> 丸山健太「2024年の台湾経済～超過貯蓄・所得増が消費を押し上げ、外需も半導体輸出の好調続く～」（2024年3月15日、三菱リサーチ&コンサルティング）、佐藤幸人「台湾の半導体産業における国家と社会」（2000年）等参照。



戦略目標の1つにイノベーション支援を掲げている<sup>22</sup>。

こうした諸外国の事例も参照しつつ、我が国が今後国際的な創薬エコシステムやサプライチェーンにおいて存在感を示していくためには、単に成功している諸外国のエコシステムを導入するのではなく、日本の強みを活かした独自のエコシステムの構築を目指し、諸外国との棲み分けを目指すべきである。この観点から、我が国が目指すべき方向性として考えられるのは、1つには、国内の大学等アカデミアの高いレベルの研究、そして低分子創薬でこれまで培ってきた経験値や技術・ノウハウの蓄積、他産業のテクノロジーの活用などを基にした「開発力強化」が挙げられる。2つ目は、伝統的なモノづくり技術や日本の規模の大きさを活かした「製造拠点」としての強みを発揮することである。地政学的リスク、円安や海外における人件費の高騰を受け、製造業の生産拠点の国内回帰が進んでいる。こうした流れを受け、製薬業分野においても、医薬品開発製造受託機関（CDMO）や医薬品製造受託機関（CMO）といった分野における日本企業の存在感を高めていくことが重要である。

グローバルな創薬エコシステムにおける日本の存在感を向上させるためには、「開発力強化」と「製造拠点」を二本柱として掲げつつ、これらの相乗効果を狙うような施策を打ち出していくことが求められる。ドラッグ・ラグ/ロスの解消、適正な薬価と適正使用の拡大、そして医療保険財政についても、次の項（「2. イノベーションへの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立」）において一定の方向性を示すこととしたい。国際的な創薬エコシステムにおいて、日本の存在感を高めていくためには、まず日本のアカデミアの成果であるシーズの育成への投資を含めた幅広い支援が求められる。具体的には、アカデミアの基礎研究から創出された有望なシーズを実用化する際のいわゆる「死の谷」を渡るための開発研究への支援が必要である。また、中長期的に取り組むこととして、日本の強みを生かした開発支援、製造拠点の強化が挙げられる。さらに、それらを支える人材育成、税制等による企業経営への経済的支援の仕組みも必要となる。

### 海外のエコシステムとの棲み分け・連携

日本の高い研究力や技術力によって研究機関等で生み出される豊富なシーズは、実用化のためのエコシステムが構築されていないために、その研究成果の恩恵を国民が十分に得ることができていない。エコシステム構築には、情報基盤、知的財産法の専門家といった人材、さらに資金面でのサポートが必要である<sup>23</sup>。政府の創薬力構想会議でも、日本のスタートアップの育成支援の必要性が提起されており、海外のベンチャーキャピタル（VC）へ向けた働きかけとして米国でのイベントへの進出、エコシステムサミットの開催等が行われているところ、そうした動きをさらに推し進めるべきである。

人材面では、優秀な日本人技術者や研究者は、米国等のより魅力的な研究環境が整備されている海外で活動することが多く、頭脳流出が我が国の課題ともなっている。そうした日本人技術者・研究者を我が国における創薬エコシステム構築の即戦力人材として積極的に登用することも今後求められていくだろう。逆に、日本から海外へ優秀な人材を積極的に送り込み、経験を積んだ上で日本と海外をつなぐ存在として活用するなど、人材の還流にも力を注ぐべきである。

その上で、将来的に海外のエコシステムにおける資源（資金、人材、ネットワーク等）の一部を日本で代替できるよう、国内経営資源の蓄積を進めていくことが求められる。その際には、既存の国内の拠点も活用していくことが考えられるだろう。既存の国内の拠点として、例えば、オープンイノベーション拠点「SakuLab<sup>TM</sup>-Tsukuba」は生物系・化学系の実験施設を備え、利用者に創薬に関する同社の専門家によるサポートや、ネットワークの活用機会を提供している<sup>24</sup>。また、「湘南ヘルスイノベーションパーク（湘南アイパーク）」は、製薬企業が有する創薬ノウハウを基盤とした最先端施設として活用されている<sup>25</sup>。2023年には、「中外ライフサイエンスパーク横浜」

<sup>22</sup> Laurence O'Dwyer et al. 'Supporting Innovation through Regulation and Science: Ireland as an Innovation Hub for Health Products', November 21 2017

<sup>23</sup> 赤木 匠「医療研究シーズが「死の谷」を越えるには」（2018年6月1日、三菱総合研究所）

[<https://www.mri.co.jp/knowledge/mreview/201806-3.html>]

<sup>24</sup> アステラス製薬株式会社ウェブサイト [<https://www.astellas.com/jp/innovation/open-innovation/labs/tsukuba>]参照。

<sup>25</sup> 武田薬品工業株式会社ウェブサイト [<https://www.takeda.com/jp/our-impact/our-stories/shonan-health-innovation-park/>]、アイパークインスティテュート株式会社ウェブサイト [<https://www.shonan-ipark.com/>]参照。



も創薬研究機能が集約された研究開発拠点として整備されている<sup>26</sup>。こうした既存の国内資源を活用した取組が求められる。

### 日本の強みを活かした創薬エコシステムの構築

創薬力の強化、創薬エコシステムの構築には長い時間を要するところ、日本の強みを生かし、現在有している国内の資源を最大限に活用した方策を立てることが有効である。そこで、中長期的な方策として、日本の経営資源を活用すること、すなわち日本企業がこれまで独自に培ってきた強みを生かした方策を検討することとしたい。これにより、我が国の従来企業の事業ポートフォリオの再構築につながることも期待できる。創薬エコシステムの構築を製薬業界だけの問題とせず、我が国の様々な産業分野を巻き込んだ取組とすることで、人口減少や地方創生等といった日本全体の課題解決へ向けて関係省庁・自治体が一体となって取り組むべき課題であることが浮き彫りになるだろう。

### 日本が培った低分子創薬のノウハウの活用

かつて創薬モダリティの王道は低分子医薬品（分子量が500以下の医薬品）であったが、2000年代半ばから、創薬のアプローチが抗体医薬品に象徴されるゲノム創薬へと変化し、これにより、低分子医薬品への注目度は低下していった。世界の医薬品売上において、バイオ医薬品を含む低分子医薬品以外のモダリティの占有率が上昇しており、2010年代には半数の上市品目が低分子医薬品以外で占められるようになった<sup>27</sup>。しかし、我が国の製薬企業では、長年の新薬の開発研究において低分子創薬に強みを有している企業が多かった。ゲノム創薬、バイオ医薬品分野においても日本の技術力を生かした取組が進められているが、日本が過去に培ってきた低分子創薬の技術を応用した最先端の創薬技術も同時に強化していくことが有用である。

実際に、国内製薬企業は低分子創薬において長年培ったノウハウを生かした取組を始めている。例えば、次世代のがん治療薬として期待される抗体薬物複合体（Antibody Drug Conjugate, ADC）については、米国を中心とした精力的な研究開発が行われているが、日本企業でも従来よりも有効性の高いADCの創製を可能とする世界初の成果が成し遂げられており、この新たな技術を生かした創薬プロジェクトが進行中である<sup>28</sup>。また、バイオ分野で日本企業が独自のテクノロジーを発展させた例として、血液脳関門（Blood Brain Barrier, BBB）を通過させて脳内に薬剤を届ける独自の技術を開発した例もある<sup>29</sup>。さらに、世界トップクラスにあった抗体エンジニアリング技術を生かして国産初の抗体医薬品の創製に成功し、リサイクリング抗体など、革新的な独自の抗体エンジニアリング技術による創薬基盤を確立している例も見られる<sup>30</sup>。また、中分子医薬品であるペプチド医薬品は、次世代創薬の中心的存在として注目されており、その中でも特殊環状ペプチドに着目した創薬が行われている<sup>31</sup>。こうした萌芽的な動きを捉え、政府の支援対象にも含めていくべきである。

### 他産業のテクノロジー・知見の活用

新薬の創薬研究開発のプロセスでは、熟練者の技術による膨大な実験工程が求められてきたが、安定性や再現性が低いという課題を抱えていた。近年、他の産業とのコラボレーションによってこの工程を自動化することで、より効率的な創薬を目指す動きが見られる。

製薬産業と他産業とのコラボレーションの具体例として、ロボット技術の活用については、創薬研究における膨大な数の化合物から新薬の候補となる有用な化合物を見出す工程（ハイスループットスクリーニング：HTS）において試薬の分注、搬送、測定を高精度で高速に実施する専用ロボッ

<sup>26</sup> 中外製薬株式会社ウェブサイト [https://www.chugai-pharm.co.jp/profile/lsp/index.html] 参照。

<sup>27</sup> 戸邊雅則「創薬化学の側面から見た低分子医薬の将来像—低分子から中分子への広がり—」（2018年5月、医薬産業政策研究所） [https://www.jpma.or.jp/opir/research/rs\_072/pb1snq00000012mk-att/pdf\_article\_072\_01.pdf]

<sup>28</sup> 第一三共株式会社ウェブサイト [https://www.daiichisankyo.co.jp/brand/adc/]

<sup>29</sup> 日経バイオテック「JCR ファーマ、独自の BBB 通過技術を抗体医薬や遺伝子治療、核酸医薬などに応用へ」（2022年3月30日） [https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/news/p1/22/03/29/09324/]

<sup>30</sup> 中外製薬株式会社ウェブサイト [https://www.chugai-pharm.co.jp/profile/rd/technologies.html]

<sup>31</sup> ペプチドリーム株式会社ウェブサイト [https://www.peptidream.com/science/evolution/]



トの活用、さらに HTS で見出された化合物の新薬候補としての適性を調べる熟練研究者の実験を代替する実験ロボットの導入事例がある<sup>32</sup>。また、バイオ向け双腕ロボット等のロボティクス技術を活用した細胞医療エコシステムの構築へ向けて、製薬企業が有する細胞製造技術、臨床開発及び細胞医療に関連する当局の規制に関する知見と最新のロボティクス技術や FA(Factory Automation)技術を融合させるための企業間の覚書締結等の動きも見られる<sup>33</sup>。同様に実験業務の自動化として、電気機器メーカーとの共同研究に基づき従来は困難であった非定型実験業務の自動化システムの構築を行う動きもあり、低分子創薬と比べてより複雑な操作が必要になる抗体医薬品や中分子創薬に対しても自動化の範囲を広げる取組として注目される<sup>34</sup>。また、蓄積された大量のデータを迅速かつ効率的に処理するための仕組みとして、日本が強みを有するスーパーコンピューターによる創薬ビッグデータ活用<sup>35</sup>、近年は AI の活用へ向けた動きも活発である<sup>36</sup>。こうした、実験業務と、そこから得られるデータベースの DX が進められている。

こうした、日本の様々な産業分野が持つ最先端のテクノロジーを新薬の研究開発に生かす取組に着目し、日本政府として政策面でバックアップしていくことが求められる。

### 製造拠点の強化／日本でのモノづくり基盤の拡充

創薬エコシステムには、研究開発、製造、上市までのバリューチェーンが構築されていることが必要である。我が国は、伝統的にモノづくりに強みを持っていることから、新薬創出のための研究開発を強化することと同時に、製造拠点としての機能を強化していくことで、グローバルな創薬エコシステムにおける存在感向上に貢献し得る。

製造を委託する側である海外企業にとっても、世界的に地政学的リスクが高まる中、円安や海外における人件費高騰も追い風となり、製造拠点の選択肢として比較的情勢の安定している日本を選ぶインセンティブが高まっている。実際、2010 年頃からバイオ医薬品の CDMO（医薬品開発製造受託機関）・CMO（医薬品製造受託機関）ビジネスはコスト面で優位性を持つ中国が中心となっていたが、近年、地政学的リスクの高まりを受け、製造拠点を中国以外の国（インド等）に求める動きが見られている<sup>37</sup>。そうした中、我が国政府においても CDMO・CMO 産業を中長期的な産業として育成しようとする動きが見られている。例えば、経済産業省の「ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業」では、感染症有事にはワクチン製造へ切り替えることを目的としたデュアルユース設備の整備として令和 3 年度・4 年度で合計 40 件、合計約 3220 億の補助金を提供しており、採択されたバイオ CDMO 拠点が富山県富山市に 2026 年の稼働を目指して新設される動き<sup>38</sup>や、神奈川県横浜市において約 500 億円を投じて既存のバイオ CDMO の開発・製造能力を拡大する動き<sup>39</sup>が見られている。さらに、mRNA ワクチンの国内における開発製造供給体制

<sup>32</sup> エーザイ株式会社ウェブサイト [https://www.eisai.co.jp/innovation/research/digital/robots/index.html]

<sup>33</sup> アステラス製薬株式会社「アステラス製薬 安川電機と製薬技術とロボティクス技術の融合による革新的な細胞医療エコシステムの構築に向けた覚書を締結」（2024 年 5 月 21 日） [https://www.astellas.com/jp/news/29201]

<sup>34</sup> 朴尚洙「中外製薬とオムロンが次世代ラボオートメーションで協業、非定型実験業務を自動化」（2023 年 7 月 19 日、MONOist） [https://monoist.itmedia.co.jp/mn/articles/2307/19/news078.html]

<sup>35</sup> 理化学研究所計算科学研究機構「ポスト「京」について」 [https://aics.riken.jp/jp/post-k/pi/drugdiscovery.html]、AnswersNews「量子コンピューターは創薬に何をもたらすのか...海外大手など応用探索へ」（2021 年 8 月 30 日） [https://answers.ten-navi.com/pharmanews/21683/] 等参照。

<sup>36</sup> 中外製薬株式会社ウェブサイト [https://www.chugai-pharm.co.jp/profile/digital/ai\_technology.html]、JAFCO「「創薬」の世界に革命を AI とロボットを駆使するバイオベンチャー」（2021 年 9 月 23 日） [https://www.jafco.co.jp/andjafco-post/2021/09/23/000165/]、日本経済新聞「競合や異業種と AI 開発で連携 「連合学習」で予測の精度高く」（2024 年 1 月 30 日） [https://www.nikkei.com/article/DGKKZO78055980Z20C24A1TEB000/]

<sup>37</sup> 化学工業日報「中国 CDMO 業界、米バイオセキュア法の衝撃」（2024 年 7 月 18 日付け記事）、AnswersNews「製薬企業 サプライチェーン「インドシフト」中国依存脱却図る」（2023 年 11 月 30 日付け記事）等参照。

<sup>38</sup> 富士フイルム株式会社「ライフサイエンス領域の事業成長加速と日本のワクチン生産強化に向けて当社国内初のバイオ CDMO 拠点を新設」（2022 年 10 月 6 日ニュースリリース） [https://www.fujifilm.com/jp/ja/news/list/8658]

<sup>39</sup> AGC 株式会社「横浜で国内バイオ医薬品 CDMO の開発・製造能力拡大を決定」（2023 年 12 月 21 日リリース） [https://www.agc.com/news/detail/1205658\_2148.html]



の構築を目指した企業間の連携協力関係の強化も進んでいる<sup>40</sup>。創薬力構想会議においても、特に、昨今の創薬の中心であるスタートアップ企業が活用することができるバイオ系 CDMO の整備・充実を図ることが期待されている<sup>41</sup>。

グローバル企業側においても、外資系企業による 1 億ドルを投じた日本国内（兵庫県丹波篠山市）の最先端治療薬の製造施設拡張が報じられるなど関連する動きは見られている<sup>42</sup>。国内生産設備への増強投資としては大阪市で 1000 億円規模の血漿分画製剤の生産設備新設が計画されるなど内資系企業も過去最大規模の投資を実施している例がある<sup>43</sup>。国内への波及効果として、最先端のテクノロジーを活用した医薬品の製造拠点を我が国に誘致することで、裾野産業の育成（雇用確保）と人材育成の好循環を生み出すことが期待される。官民を挙げた半導体産業の国内誘致が地域経済を活性化させたように<sup>44</sup>、製薬業界においても同様の動きを活発化させることで、将来的な創薬エコシステムの構築に貢献するだけでなく、地方創生においても好影響を与えるだろう。また、こうした日本の医薬品製造体制の強化は、グローバルな創薬エコシステムにおける日本の存在感を向上させ、世界の最先端技術が集約された医薬品の製造拠点として日本が重要かつ不可欠な役割を担うことに貢献すると考えられる。

### 様々な分野の人材育成

これまで述べてきたような、研究開発力の向上、そして製造拠点としての機能の強化といった創薬のエコシステムを回していく上では、あらゆる側面における人材の育成強化が欠かせない要素となる。創薬力向上の取組は、国内の大学や高等専門学校といった高等教育機関による人材育成計画とセットで進めることも重要である。特に、高等教育機関のカリキュラム構成や講座のポートフォリオ・教員の人選のあり方は抜本的に改革することが必要である。社会のニーズや産業界の動向を鑑みて、学生が社会で必要とされる最先端の技術や科学を学ぶような仕組み作りを政府の強いイニシアティブの下戦略的に取り組む必要がある。

現在の取組の一例として、一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンター（BCRET）は、バイオ医薬品の開発・製造に関わる人材を育成することを目的に 2017 年に神戸大学内に設立され、2018 年から本格的に稼働している。主な事業内容は「（1）バイオリジクス分野の開発、製造及び分析に関連する教育を実施し、産・学・官で協力して、当該分野の産業を推進する人材を育成する。（2）バイオリジクス分野に関する先端的な研究・調査を行う。例えば、その結果を行政と連携して規制に反映させるなど、当該分野の産業の幅、量において更なる振興を図る。（3）大学等に存在するバイオリジクスに関する研究、特にシードの開発を支援し当該分野の産業界へ橋渡しする。」とされており、講習会では実際にバイオリジクスの開発・製造を行った経験を有する製薬企業の開発・製造担当者及び神戸大学の教員などが講師とした実践的な内容となっている。こうした取組を更に拡大させていくことで、日本が本来強みを有する「モノづくり」能力をバイオ分野の創薬エコシステムの強化に活用できると考えられる<sup>45</sup>。

### 政府による経済的支援のあり方

上記に挙げた施策を実現するためには、企業の自助努力だけに頼ることは限界がある。そこ

<sup>40</sup> Meiji Seika ファルマ株式会社「Meiji Seika ファルマから ARCALIS 社への出資に関するお知らせ」（2024 年 11 月 14 日プレスリリース）

[[https://corp.arcalis.co.jp/news/meijiseikapharma\\_announces\\_investment\\_arcalis\\_jp/](https://corp.arcalis.co.jp/news/meijiseikapharma_announces_investment_arcalis_jp/)]

<sup>41</sup> 内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間取りまとめ」

<sup>42</sup> ノバルティスファーマ株式会社「ノバルティス ファーマ、放射性リガンド療法生産力強化のため、1 億ドル投資による篠山工場の製造施設拡張計画を発表」（2023 年 11 月 7 日）[<https://www.novartis.com/jp-ja/news/media-releases/prkk20231107>]

<sup>43</sup> 日本経済新聞「武田薬品、血液製剤を増産 大阪工場に 1000 億円規模投資」（2023 年 3 月 23 日記事）

[<https://www.nikkei.com/article/DGXZQOUC231ZR0T20C23A3000000/>]

<sup>44</sup> 例えば、半導体が生む経済波及効果は、熊本の場合では 10 年間で 6.9 兆円になると試算されている。参考として、政府広報オンライン「半導体が生む経済波及効果」（2024 年 5 月 27 日）[<https://www.gov-online.go.jp/article/202405/tv-5352.html>]等。

<sup>45</sup> 読売新聞「[医療ルネサンス] シリーズ薬 創薬の最前線<6>バイオ薬 人材育成急ぐ」（2024 年 10 月 4 日付記事）



で、創薬エコシステムの構築へ向けた国全体の政策パッケージとして、上記の取組を全面的にサポートするための経済的な制度を用意し、そうした制度を企業が十分に活用することができるようにするための支援も必要になってくるだろう。

税制や補助金といった経済的支援を活用する意義の1つには、製薬企業に対する経済的インセンティブを全て薬価制度の中で対応することは難しい、という観点もある。本来、薬価は医薬品そのものの価値に重点を置くものであり、企業自体への評価を考慮することは例外的な対応である<sup>46</sup>。しかし、莫大な開発コストに比して患者数が少ないような希少疾患治療薬の開発に尽力する企業等に対しては、その社会への貢献度を評価したリワード（報酬）を設定することで開発を促し、より多くの患者が救われるような方向性に誘導することが望ましい。そこで、法人そのものに対する減税や補助金等の経済的支援策を整備することに意義がある。

また、日本の医薬品政策の在り方という広いテーマについて官民で議論していく際には、産業政策としての観点に加え、人口減少に対応する生産性向上・高付加価値化、地方創生、人材育成といった幅広い観点が必要になってくる。薬価制度以外の経済的インセンティブについて検討することは、より幅広い関係省庁とともに、政府一丸となった取組を求めていくことにもつながっていくだろう。

一方で、一般論として、税制・補助金の恩恵を受けた企業のモラルハザードが課題になる。すなわち、政府の支援に依存した経営体質が生まれることで、かえってイノベーション創出が起きにくくなるような事態は避けるべきである。

### 現在の研究開発関連税制の課題

現在、新薬を開発する製薬企業が活用することができる経済的支援として、インプットに着目した「研究開発税制」やアウトプットに着目した「イノベーション・ボックス税制」が用意されている。研究開発税制は、企業が研究開発を行っている場合に、法人税額から試験研究費の額に税額控除割合を乗じた金額を控除することができる制度で、民間企業の研究開発投資を維持・拡大することにより、イノベーション創出に繋がる中長期的・革新的な研究開発等を促し、我が国の成長力・国際競争力を強化することを目的としている。研究開発投資の維持・拡大、オープンイノベーションの促進の観点から 2024 年度も見直しがなされている。売上の2割近くを研究開発に投資する製薬産業にとって、研究開発税制のメリットは大きく、創薬エコシステムの構築における貢献度は高いと言える。

イノベーション・ボックス税制（イノベーション拠点税制）は 2024 年度に新たに創設された制度である。イノベーションに関する国際競争が激化する中、研究開発拠点としての立地競争力を強化し、民間による無形資産投資を後押しすることを目的として、特許権・AI 関連プログラムの著作権から生じるライセンス等の所得に対して 30 パーセントを所得控除する制度である。同様の制度は、2000 年代から欧州諸国で導入され、近年シンガポールやインド、香港といったアジア諸国でも導入または導入が検討されている<sup>47</sup>。

同制度の課題としては、国内投資促進を目的としているため、海外ライセンスは対象外となるなど、グローバルに展開する製薬企業の期待に十分応えるものにはなっていないとの課題が指摘されている<sup>48</sup>。なお、国際的にサプライチェーンが複雑化する中で、国際共同研究でイノベーションが起こされた場合には、各国間での成果の奪い合いともなりかねない。国際協調によるルールの形成が必要となるが、理想的な制度の構築には困難が伴うことが予想される。諸外国が同様の制度を導入している中で、日本だけ同制度がない場合には、企業にとっては知的財産を海外に移転するインセンティブにもなりかねない。そのため、知的財産の国外流出を防止するためにも、同制度が必要とされる。

<sup>46</sup> かつては新薬創出加算に企業要件が設定されており、過去の新薬開発努力やドラッグ・ラグ/ロス解消の実績を評価した制度になっていたことから、スタートアップ企業に不利であることが課題となっていた（2024 年度の改革で企業要件は廃止された）。

<sup>47</sup> 経済産業省「イノベーション拠点税制（イノベーションボックス税制）について」

[[https://www.meti.go.jp/policy/tech\\_promotion/tax/about\\_innovation\\_tax.html](https://www.meti.go.jp/policy/tech_promotion/tax/about_innovation_tax.html)]

<sup>48</sup> 日刊薬業「イノベーションボックス税制の狙いは 24 年度税制改正」（2024 年 1 月 22 日付け記事）



## 求められるアプローチ

現在の制度は、企業のイノベーションを促進する観点から、諸外国の類似の制度も参考にして設けられたものである。その在り方を巡っては、これまでも様々な議論が存在しているところ、今後求められる経済的支援のあり方としては以下の観点が重要となると考えられる。

第一に、政府による支援は国家間の公平な競争条件確保という観点から、グローバル企業にとって日本への投資が不利にならないように行われなければならない。

第二に、企業が経済的支援を受けることでモラルハザードに陥ることを回避するためには、アウトプット（成果）を重視した制度設計とする必要があるだろう。例えば、政府が一定の目標を掲げ、成果を達成した企業には高い評価を与えるとともにより多くの資金（インセンティブ）を振り向けるなどの仕組みを強化するべきである。

第三に、本来、政府による民間への経済的支援は最終的に国民全体の利益となるような内容であることが望ましく、その観点から検討すると、減税によるメリットが労働者にも還元されたり、支援対象の事業者が成果を上げた場合にその一部が国家収入となるような仕組みを構築することも検討の余地がある。例えば、「スタートアップの国」と称されるイスラエルでは、スタートアップ支援として独自の資金援助の制度を取り入れている<sup>49</sup>。これは、企業に対する補助金ではあるが、ビジネスが成功した場合にはその利益の一部を配当という形で政府に還元する仕組みである。政府はその還元された資金を次の補助金に充てるという循環が出来上がっている。しかし、日本で同様の政策を行う場合には、最も大きな課題は成功する企業を見抜く「目利き」力のある人材、機関が不十分なことであろう。単に制度を用意するのではなく、その活用をサポートするための人材育成等の仕組みが必要となる。

最後に、他の業界から創薬に参入するパターン<sup>50</sup>に対するサポートも必要となる。他の業界に創薬の仕組み、規制を理解してもらうための支援が求められる。この場合も、資金繰りの厳しい企業への支援において研究開発税制を十分に活用するべきである。さらに、革新的な新薬の開発成功等、期待以上の成果を出した企業への評価の仕組みも拡充していくことが必要である<sup>51</sup>。

## 2. イノベーションの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立

### (1) ドラッグ・ラグ/ロスの解消

#### ① 背景と分析

日本政府は、ドラッグ・ラグ/ロス<sup>52</sup>を深刻な課題ととらえ、様々な対応を行ってきた。「経済財政運営と改革の基本方針 2022」（骨太方針 2022）では、医薬品に関しては「経済安全保障や医薬品産業ビジョン 2021 等の観点も踏まえ、医薬品の品質・安定供給の確保とともに創薬力を強化し、様々な手段を講じて科学技術力の向上とイノベーションを実現する」との記載に留まっていた<sup>53</sup>。その後、厚生労働省が 2022 年 8 月から有識者検討会を開催し主な課題の整理と今後の対策の方向性を提示<sup>54</sup>、2023 年 1 月 26 日の衆議院本会議において岸田総理大臣（当時）が「イノベーションの推進と国民皆保険の持続性が両立するように、両者のバランスを取りながら薬価改定に取り組

<sup>49</sup> 三菱 UFJ リサーチ&コンサルティング「イスラエルにおける研究開発型スタートアップ支援施策のポイント」（2020 年 6 月 18 日）[[https://www.murc.jp/wp-content/uploads/2020/06/seiken\\_200618.pdf](https://www.murc.jp/wp-content/uploads/2020/06/seiken_200618.pdf)]

<sup>50</sup> 例えば、味の素株式会社[[https://www.ajinomoto.co.jp/company/jp/presscenter/press/detail/2023\\_11\\_13\\_05.html](https://www.ajinomoto.co.jp/company/jp/presscenter/press/detail/2023_11_13_05.html)]、日本たばこ産業株式会社(JT)[<https://www.jti.co.jp/pharma/enterprise/index.html>]、富士フィルムグループ[<https://www.fujifilm.com/jp/ja/business/regenerative>]等による新薬開発・製造支援の例がある。

<sup>51</sup> 成果の条件として、国内での雇用確保、工場増設など、研究開発とは直接関係のないものを含むことも検討の余地がある。

<sup>52</sup> 本稿では、ドラッグ・ロスを「海外では承認されている医療用医薬品が、日本では未承認の状態」、ドラッグ・ラグを「日本での承認が、海外の承認に比べて遅れている状態」とする。

<sup>53</sup> 内閣府「経済財政運営と改革の基本方針 2022 新しい資本主義へ～課題解決を成長のエンジンに変え、持続可能な経済を実現～（令和 4 年 6 月 7 日閣議決定）」]

<sup>54</sup> 「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 報告書」（令和 5 年（2023 年）6 月 9 日）



んでいく」旨の発言を行った<sup>55</sup>。2023年6月16日に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針 2023」（骨太方針 2023）では、「創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置（中略）等を推進する。これらにより、ドラッグラグ・ドラッグロスの問題に対応する。さらに、新規モダリティへの投資や国際展開を推進するため、政府全体の司令塔機能の下で、総合的な戦略を作成する。医療保険財政の中で、こうしたイノベーションを推進するため、長期収載品等の自己負担の在り方の見直し、検討を進める。」とイノベーションの適切な評価へ向けたより具体性のある取組が明記された<sup>56</sup>。

なお、政府では、ドラッグ・ラグ/ロスの原因として日本の薬事規制面の課題を解消するため、2023年7月から設置された「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」（以下「薬事検討会」という。）の議論を踏まえて、2023年12月から、原則として国際共同治験の前に日本人による臨床第1相（P1）試験を追加実施することを不要とする制度改正を行っている<sup>57</sup>。

### 現状の把握と対策が必要

ドラッグ・ラグ/ロスの原因については、様々な見解の対立が存在している。製薬業界側は、日本の薬価制度の予見性の低さを掲げ、市場拡大再算定や中間年（毎年）改定<sup>58</sup>等の見直しを求めているが、中央社会保険医療協議会（以下「中医協」とする。）の委員からは、予見性という観点では日本の薬価算定には高い予見性があるとの指摘もあり、合意された結論は出されていない<sup>59</sup>。

具体的な対策を講じるに当たっては、まずドラッグ・ラグ/ロスの要因をよく分析し、現状を正確に把握することが必要である。例えば、欧米で承認され、日本では未承認である医薬品であっても、現在主流の医薬品よりも前世代の医薬品も含まれている場合には、当然開発インセンティブは企業にはない上に、医療現場のニーズもないことから、その解消へ向けた方策の優先度は高くはない。例えば、認知症薬の「アデュカヌマブ」は2021年にFDA（Food and Drug Administration：米国食品医薬品局）で条件付き承認がなされ、日本では2020年に承認申請されたものの厚生労働省は承認を見送る決定を下している<sup>60</sup>。その後、統計的に明らかな治療効果が得られた認知症新薬「レカネマブ」が上市され、米国に続き2023年9月には日本でも承認されている<sup>61</sup>。この場合、「アデュカヌマブ」はドラッグ・ロス（米国では既承認、日本では未承認）に該当するとも言えるものの、既により効果の高い新薬が国内でアクセス可能であることから、ロス解消の必要性は薄い。

そのため、ドラッグ・ラグ/ロス解消のための方策を検討する前提として、米国で優先審査などの対象になった革新的な医薬品や、抗がん剤等ニーズの高い医薬品、希少疾病用医薬品が、ドラッグ・ロスになっているかどうかという視点での調査が必要となる。

また、我が国におけるドラッグ・ロスとしては、市場規模があまりにも小さいため大手製薬企業では優先順位が低く設定されるような、海外の中小バイオテック企業が開発するシーズのロスが大きいのではないかととも言われている<sup>62</sup>。例えばその背景には、海外の中小のバイオテック企業における

<sup>55</sup>岸田総理（当時）による第211回国会衆議院本会議第3号令和5年1月26日の答弁等参照。

<sup>56</sup>内閣府「経済財政運営と改革の基本方針 2023 加速する新しい資本主義～未来への投資の拡大と構造的賃上げの実現～（令和5年6月16日閣議決定）」

<sup>57</sup>厚生労働省医薬品審査管理課長通知「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」（令和5年12月25日）医薬薬審発1225第2号

<sup>58</sup>政府資料では「診療報酬改定のない年の薬価改定」とも表記される。

<sup>59</sup>中央社会保険医療協議会薬価専門部会第203回議事録（2023年7月5日）

[[https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000203254\\_00062.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000203254_00062.html)]

<sup>60</sup>産経新聞「米製薬、認知症薬販売終了 アデュカヌマブ、普及せず 日本では承認見送り」（2024年2月1日付け記事）等参照。

<sup>61</sup>エーザイ株式会社ウェブサイト[<https://www.eisai.co.jp/news/2023/news202374.html>]参照。

<sup>62</sup>読売新聞オンライン「創薬力強化へ新薬の研究開発拠点…海外新興企業を呼び込み、「ドラッグロス」解消図る」（2024年8月23日付け記事）、東京財団政策研究所「日本のドラッグロスとドラッグラグ：現状分析と再生への提案」（2024年7月3日）等参照。なお、政府では海外ベンチャー向けの総合窓口の整備を目指した取組が開始されている。





日本の制度への理解不足があると考えられる。こうした議論では、日本市場の薬価の低さがクローズアップされがちであるが、日本市場には透明性の高い薬価算定のみならず、後述するように、迅速かつ広範囲な保険償還、（患者の経済的負担を抑えるための）高額療養費制度、特許医薬品に関しては依然として世界第二位の市場規模であることなど他国市場に比した優位性も存在する。そのため、海外バイオテック企業への日本の薬価算定や保険償還などについて正確な理解を促すための方策も検討する必要がある。

また、承認の遅れのドラッグ・ラグに関しては、その背景として、日本で付く低い薬価が他の地域で参照されないように、日本での承認申請を遅らせるインセンティブがあるとされている。そのため、革新的医薬品の早期導入を促す制度として、世界に先駆けて日本で実用化を目指す新薬を承認審査で優遇する「先駆導入加算」が設けられていたが、適用を受けるためのハードルの高さが業界から指摘されていた。そこで、2024年度からは先駆的医薬品に指定されていない品目にも日本への早期申請・承認に対するインセンティブが付与される「迅速導入加算」が導入されることとなったことで、一定の改善がなされており、施策の効果検証が待たれる<sup>63</sup>。

## ② 目指すべき方向性

ドラッグ・ラグ/ロスの解消に向けた具体的な対策としては以下が挙げられる。

### ア 日本の制度に関する正確な情報の伝達

他国と比較した際の我が国の制度の優位性として、国民皆保険制度に基づいた「迅速かつ広範囲な保険償還」や「高額療養費制度」が挙げられる。世界における最初の上市からのラグ、承認から保険償還までの期間も、G20の平均を大きく下回る<sup>64</sup>。特に、保険償還期間に関しては、欧州では承認から保険償還までの期間が長い傾向にある。例えば、英国やフランスでは15か月、カナダでは30か月以上を新薬承認から保険償還までに要しているのに対して、日本では同期間は通常は2か月である。なお英国等では、費用対効果評価の結果を保険償還の可否に用いていることが期間の長さに影響していると考えられる。

さらに、日本には国民皆保険制度に加えて高額療養費制度が存在することから、自己負担額も一定額までに抑えられる。そのため、高額な医薬品が処方された場合でも、多くが公的医療保険でカバーされることから、実質的に少ない自己負担で高額な医薬品を利用することができる。一方、米国では保険償還も迅速・広範囲であるが、日本や欧州のような公的保険制度が確立されておらず、民間保険が中心となっていることから、高い保険料を払えるような高所得者でないとその恩恵が十分に得ることができない。そのため、処方されても実際には購入しない／できない人が一定数存在することが社会問題となっている<sup>65</sup>。米国と異なり、日本では処方された高額医薬品を実際に服用するハードルが低くなっているといえる<sup>66</sup>。

さらに、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）や、小児用医薬品を含む革新的な医薬品に対しては、要件を満たせば新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下「新創加算」という。）等の加算適応がなされ、薬価改定時の薬価が維持される。薬価算定の際の透明性に関しても、新薬上市時の価格が政府と製薬企業のクローズドの交渉で決定される欧米に比べると、我が国は長年の議論を踏まえた緻密なルールに基づきある程度中立的に算定される仕組みとなっており、透明性は高いと言える。こうした制度的優位性について、正確な情報に基づいてしっかりと諸外国の製薬企業、特

参考として日刊薬業 2024年9月4日付け記事「FIH試験体制整備、29年度稼働目指す 世界の創薬シーズ呼び込む構想、厚労省」など。

<sup>63</sup> 同加算を帳消しにする原価計算方式の原価開示率による係数の仕組みが残存しており、見直しが求められている。詳細は「（2）適正な薬価と適正使用の拡大」の項を参照。

<sup>64</sup> 米国研究製薬工業協会(PhRMA)資料 (<https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Refresh/Report-PDFs/A-C/2023-04-20-PhRMA-Global-Access-to-New-Medicines-Report-FINAL-1.pdf>)。なお、1985年の日米首脳会談を契機に実施された日米2国間協議（MOSS協議）によって合意された内容に基づき、日本ではいわゆる「60日ルール」が原則となっている。

<sup>65</sup> Grace Sparks et al, 'Public Opinion on Prescription Drugs and Their Prices' (Oct 04, 2024)

<sup>66</sup> U.S.Census Bureau 'Health Insurance Coverage in the United States: 2021'等参照。



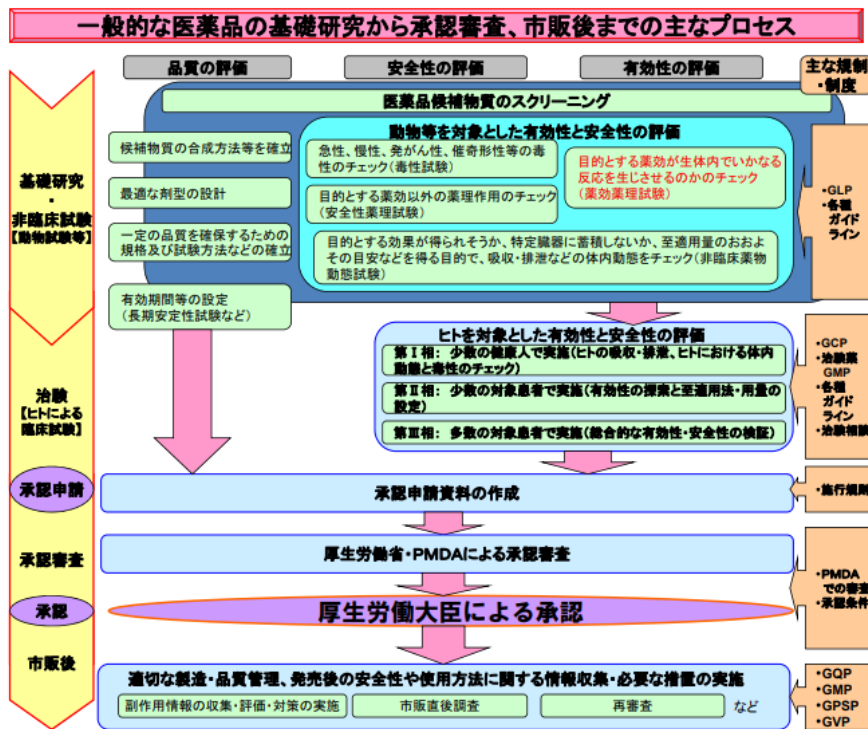
にスタートアップ企業等にアピールしていく必要がある<sup>67</sup>。

なお、特に特許品市場において、日本は依然として世界第二位の市場である<sup>68</sup>。まずは現状を正確に関係者間において共有した上で、建設的な対策を議論することが求められる。

## イ 開発・審査プロセスの迅速化

開発や審査プロセスの迅速化に関しては、既に述べたとおり、薬事検討会の議論を踏まえた見直し策が打ち出されている。そうした政府の動きを分析した上で、今後求められる取組として以下検討する。

一般的に、創薬は基礎研究から臨床試験（治験）まで 10 年程度を要し、その後厚生労働省への承認申請と専門家による審査を経て、薬価基準に収載されることで最終的に医薬品として上市されることとなる<sup>69</sup>。PMDA は 2004 年 4 月に設立され、医薬品の承認審査のほか、健康被害救済や安全対策を行うことを目的としている<sup>70</sup>。



(図 1) 医薬品の承認審査の概要 (出典：PMDA ウェブサイト<sup>71</sup>)

## 申請書類の翻訳における生成 AI 活用

企業は、承認申請を行う際、有効性や安全性に関する資料等、様々な申請資料を作成し、PMDA の求めに応じて提出する。基本的には申請書類は日本語で提出する必要があるが、海外バイオテック企業等が開発した革新的医薬品等に関しては、基本的には基礎資料が英語で書かれている。日本語訳がない場合には審査が遅れるリスクがあるため、多量の申請用資料を日本語に翻訳する必要があ

<sup>67</sup> 創薬力構想会議の中間取りまとめにおいても、米国等で開催される世界的なイベントに関係府省庁が連携して参加し、薬価制度や薬事制度を含む我が国の創薬関連施策の効果的な発信を行うことを提言している。中間取りまとめ 10 頁参照。

<sup>68</sup> ミクスオンライン「IQVIA 国内医療用薬の特許品市場 23 年度までの 5 年平均成長率は+12.3% 市場全体は +1.9%」(2024 年 8 月 8 日付け記事)

<sup>69</sup> 東京証券取引所(JPX)「創薬系バイオベンチャー企業について」[<https://www.jpx.co.jp/listing/others/risk-info/tvdivq0000001rssh-att/cg27su00000032aa.pdf>]

<sup>70</sup> PMDA ウェブサイト[<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/outline/0001.html>]参照。

<sup>71</sup> PMDA「医薬品の承認審査の概要」[<https://www.pmda.go.jp/files/000155539.pdf>]4 頁

るが、その作業が膨大なため審査プロセスの迅速化におけるハードルの1つであるとして創薬力構想会議等でも指摘されていた<sup>72</sup>。

厚生労働省は、薬事検討会の議論を経て、2024年9月に承認申請時の資料について、英語で提出することを試行的に可能とする旨の事務連絡を発出した<sup>73</sup>。ただし、当分の間の試行的な取扱いとされており、PMDAへの事前相談等の条件が付いている。なお、これらの措置は厚生労働省による通知・事務連絡によるものであり、上位の規範である法律・規則といった現行法令（薬機法施行規則）上は、PMDAへの提出書類は日本語で記載される必要があることとされていることから、今後の改正議論が注目される<sup>74</sup>。

こうした言葉の壁に関しては、近年様々な分野において実装化が進んでいる生成AIを活用した審査プロセスの迅速化も検討する余地がある。例えば、PMDAが保有するこれまでの膨大な申請書（英語、日本語いずれも含む）を生成AIに学習させ、申請用の翻訳のシステムを開発し、同システムを企業側に開放する。日本において医薬品を上市しようとする製薬企業や海外のバイオテック企業は、同システムを活用し、申請書類を迅速かつ効率的に翻訳し、審査プロセスへと進むことができる。こうした生成AIの開発には当然ながらコストがかかるが、恩恵を受ける製薬企業側もそのコストを利用料として負担し、システム開発は膨大なデータを有するPMDAが行うという形で、関係者が適切な分担を行うことが肝要となるだろう。業界側に負担を求める際には、直接的な恩恵がないにもかかわらず強制的な負担を強いることがないようにすることが重要である。

こうした仕組みを整備することで、海外での開発が先行した新薬候補を日本で申請するすべての企業（海外のバイオテック企業のみならず、それらが開発するシーズに関心を有した大手企業等）は、前臨床<sup>75</sup>や、臨床試験第I相段階といった早期の段階から生成AIを活用して申請書類等を迅速に準備することが可能となる。

### 日本人データのネガティブリストの作成

複数の国や地域で同時に治験を行う国際共同治験は、ドラッグ・ラグを解消する上で有用であるが、同時に、民族差を考慮しなければならないなど留意点も存在する。重篤な副作用や薬害を防止する観点から、日本人のデータは重要となる。そのため、海外で開発された新薬の場合、薬事申請に際して日本人患者による臨床試験成績が必要とされてきた。

しかし、全てのケースにおいて日本人データを求めることは、迅速な承認申請を阻害する要因ともなる。そこで、2023年12月の厚生労働省課長通知（既出）では、日本人での第I相試験の追加実施は必ずしも必要ではない、との見解を示した。今後は、この動きをさらに進め、審査時に必ず日本人のデータが必要となる（日本人のデータがない場合には審査ができない）ケースをネガティブリストとして作成することで、日本人データの必要性についての判断を迅速かつ容易にすることも検討の余地がある。

ネガティブリストを作成するためには、十分なエビデンスに基づく研究成果が必要となる。その際、海外の研究者を含めた有識者の知見の反映、資金や人材ネットワーク等における企業側の支援が求められる。ただし、その場合には、ある程度中立公平な立場の人材が参画するようにバランスを取る必要があるだろう。

また、ドラッグ・ロス／ラグの解消に向け、2024年10月の厚生労働省課長通知「希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方について」を拡充していくことも重要である<sup>76</sup>。

<sup>72</sup> 内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間取りまとめ」

<sup>73</sup> 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課「新医薬品の承認申請に際し承認申請書に添付すべき資料の提出について」（令和6年9月6日付け事務連絡）

<sup>74</sup> 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施行規則第283条においてPMDAへの提出書類は邦文で記載、または翻訳文を添付しなければならないこととされている。

<sup>75</sup> 前臨床（非臨床試験）：いわゆる「動物実験」のこと。様々な大きさの動物を用いて、薬のデータを取得し、生体への基礎的な効果（有効性と安全性）を評価・証明するための科学的データを提供する。

<sup>76</sup> 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知「希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方について」（医薬薬審発1023第3号、令和6年10月23日）



## (2) 適正な薬価と適正使用の拡大

### ① 背景と分析

国際的な創薬エコシステムの中で日本の存在感を高めていくためには、グローバルな市場において日本市場に上市することに経済的メリットがなければならない。ドラッグ・ラグ/ロスの解消のためには、イノベーションを適正に評価し得る薬価制度の構築も同時に必要である。我が国は、国民皆保険制度や高額療養費制度に支えられている点で患者の医薬品へのアクセスが容易である一方、新薬上市時の価格の相対的な低さや、改定の度に薬価が下がり続ける仕組みがデメリットとして強調されている。国民皆保険制度の下でこうしたマイナス面を克服するためには、適正な薬価と医薬品の適正使用の拡大がポイントとなってくる<sup>77</sup>。

我が国の薬価制度は、欧米諸国とは異なり、有効性や安全性の治験の結果などに基づき、政府により薬価が決められている。その際、医療保険財政の健全性維持を念頭に、有効性・安全性という効果に基づいて薬価（支払い側から見れば費用）が決められるため、第一段階の費用対効果評価が行われているといえる。また、政府が医療保険財政の健全性維持を念頭に薬価を決定しているため、承認後の保険償還は国際的に見ても迅速で広範囲である<sup>78</sup>。さらに、薬価算定ルールは精緻に決められて公表されているため、その点で透明性が高い。

一方で、欧米諸国では、薬価は企業が希望する価格をもとに決められるため、その価格が妥当であるかを、質調整生存年（QALY）<sup>79</sup>ならびに費用から見た費用対効果評価で判断し、費用対効果が悪い場合には政府・支払い側と価格交渉が行われる。そのため、保険償還が遅れる。

日本では、2010年代に入り、第一段階での費用対効果評価に基づく薬価制度でも、高額な薬価が算定される新薬が頻出してきたため、その制度を補完する仕組みとして、欧米諸国で普及しているQALYと費用から見た費用対効果評価の仕組みが、（第二段階の）費用対効果評価制度として導入された。ただ、上記のような欧州での保険償還の遅れを回避し、国民の新薬への迅速なアクセスを保障するため、第二段階での費用対効果評価の結果は、薬価の調整のみに使われ、保険償還の可否判断には用いないことになっている。

他方で、昨今の議論で費用対効果評価の活用拡大が求められているところ、以下概要を整理しつつ、方向性について検討したい。

## ア 薬価制度の概要と課題

### 新薬算定方式の概要

日本では薬事承認がなされると、基本的に全ての医薬品が保険収載されている。これは、一般的に「60日ルール」と呼ばれており、1985年の日米2国間協議（MOSS協議）による合意を経て、我が国の原則的なルールとして行われている<sup>80</sup>。保険に収載される際に価格も決定されること、日本では、原則として既にある似たような薬効の医薬品と同じ価格を付ける類似薬効比較方式が採用されている。なお、これまでに有効な治療法が存在しなかった疾患に対する治療薬等、革新的な薬効を持つ医薬品については、比較すべき既存の医薬品が存在しないことから、薬の原材料費等をもとにして価格を決める原価計算方式が用いられる。いずれの場合にも、その医薬品の画期性や

<sup>77</sup> 創薬力構想会議においても、民間投資が経済合理性を踏まえて行われることから、革新的医薬品の価値に応じた評価方法を検討することが改めて明記されている。内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間取りまとめ」19頁参照。

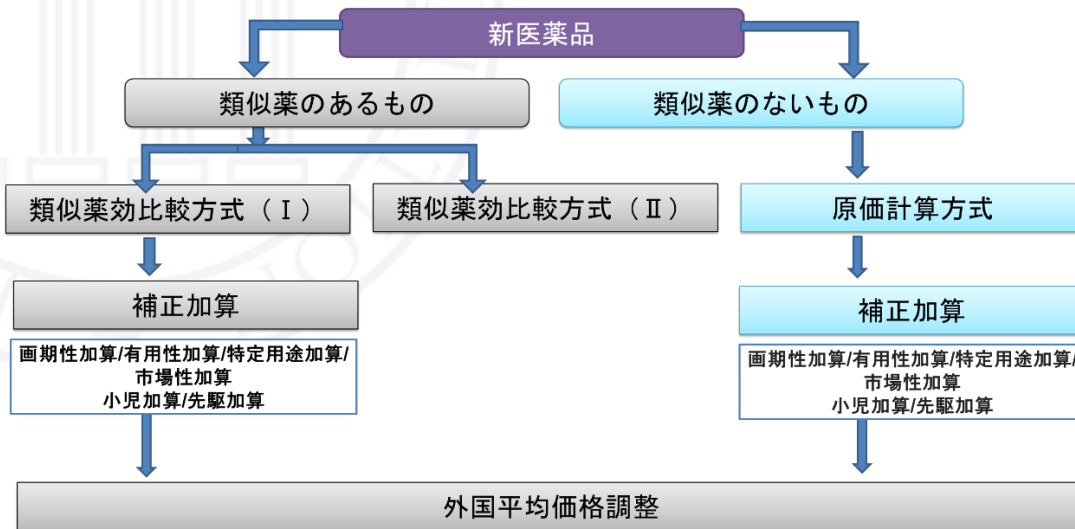
<sup>78</sup> PhRMA, 'Global Access to New Medicines Report', April 2023 (<https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Refresh/Report-PDFs/A-C/2023-04-20-PhRMA-Global-Access-to-New-Medicines-Report-FINAL-1.pdf>)

<sup>79</sup> 質調整生存年（Quality-adjusted life years, QALY）とは、生活の質（QOL）で調整された生存年であり、「生活の質のレベル（Quality of life, QOL）×生存年数」として算出される。QOL値は0（死亡）から1（完全な健康状態）までの値となる。費用対効果は、より具体的にはQALYならびに費用の増分から算出されたICERの数値によって評価される。ICER（Incremental cost-effectiveness ratio）とは、増分費用効果比を意味し、医療における費用対効果を評価する指標である。新しい医薬品や医療機器を使用した時にかかる「追加の費用」を、新たに得られる「追加の効果」で割ったものがICERの値となる。ICERの値が小さいほど費用対効果が良いと評価される。保健医療経済評価研究センター「費用対効果の評価方法」[<https://e2h.niph.go.jp/assessment/cost-effectiveness/>]参照。

<sup>80</sup> 吉田晃子「新薬はなぜ、承認から60日で患者さんに届くのかー60日ルールの誕生と現状、これからー」（政策研ニュース No.66 2022年7月）



有用性、市場性などを評価し、加算がなされる（図2参照）。



（図2）類似薬効比較方式と原価計算方式（出典：厚労省資料から協会において作成）

近年、この加算の制度に関して、新薬へのアクセス向上やイノベーションの価値の評価向上のための様々な見直しが行われている。例えば、世界で最初に日本で上市する医薬品に加算する「先駆導入加算」、イノベーションの価値を評価する「新創加算」などが活用されてきた。しかし、日本の薬価の低さから市場の魅力度が低下する中、グローバルに展開する製薬企業は価格の高い米国で最初に上市し、そこで付いた高い価格をもって日本で申請を行うことが当然とされている。そうした中、日本で最初に導入しなくても、他国から遅れないタイミングで上市することを評価すべきとの声が高まり、「迅速導入加算」が2024年度から創設されることとなった。また、「新創加算」についても、導入後、新たに企業要件が設定され、スタートアップ企業にとって不利な条件となってしまうことなどが批判され、2024年度から企業要件が見直されることとなった。

政府は「国民皆保険制度の持続性とイノベーション推進の両立」を掲げており<sup>81</sup>、皆保険を維持しながら、高額化する医薬品といかに向き合っていくか、関係業界の意見も広く聞きながら、制度設計の見直しを行っている。なお「経済財政運営と改革の基本方針2024」（骨太方針2024）では、「2025年度薬価改定に関しては、イノベーションの推進、安定供給確保の必要性、物価上昇など取り巻く環境の変化を踏まえ、国民皆保険の持続可能性を考慮しながら、その在り方について検討する。」と記載されている<sup>82</sup>。

### 新薬算定方式における課題

近年登場する多くの革新的医薬品は、類似薬が存在しないことから、日本においては新薬算定の例外的ルールである原価計算方式で算定することとなる。しかし、原価計算方式では製造原価等がベース価格となることから、価格が低く抑えられてしまうことが日本市場の魅力低下の要因として指摘されてきた<sup>83</sup>。なお、イノベーションの評価は加算で行われる仕組みとなっているが、製造原価の開示度を向上し薬価の透明性を高めるという観点から、2018年から開示度に応じて補正加算の額を減額する等の取扱いが導入されている<sup>84</sup>。さらに2020年11月の「秋の行政事業レビュー」

<sup>81</sup> 「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（2016年12月20日）等参照。

<sup>82</sup> 内閣官房「経済財政運営と改革の基本方針2024について」（令和6年6月21日閣議決定）

<sup>83</sup> 薬価算定単位あたりの製造（輸入）原価に、販売費及び一般管理費、営業利益、流通経由並びに消費税を加えた額が薬価となる。

<sup>84</sup> 開示度（製品総原価のうち薬価算定組織での開示が可能な額／製品総原価）の割合に応じて加算係数が設定されており、開示度が80%以上で加算係数が1.0、開示度が50%以上80%未満で加算係数が0.6、開示度が50%未満で加算係数は0.2とされていた。

において、外資系製薬企業が原価を正確に報告していないことが問題とされると<sup>85</sup>、2022年度の薬価制度改革では原価計算方式における加算係数が見直され、原価の開示率が50%未満とされた場合の加算係数が0.2からゼロに変更された<sup>86</sup>。なお、当該見直しに対しては、当時の中医協薬価専門部会において業界から「非常に厳しい」という声が挙がるとともに、支払側の複数の委員からもイノベーションの評価や医薬品安定供給への影響が懸念され、施策の継続した分析が求められていた<sup>87</sup>。

その後の薬価収載では、画期性や有用性でそのイノベーションが高く評価されたにもかかわらず、原価の開示度の低さから全ての加算が無に帰してしまう事例が多発する事態となっている<sup>88</sup>。特に、新規導入された迅速導入加算の初の適用事例で同ルールにより加算がゼロになった例<sup>89</sup>や、6年ぶりの画期性加算が全て帳消しになった事例<sup>90</sup>は、いずれも業界やマスメディアから注目された。このような現行の評価の仕組みに対しては、2024年5月の中医協総会において診療側委員から疑問が呈されており、特に画期性加算の適用対象となったものについてはある程度の配慮が必要であるとの認識が示されている。これに対して、厚生労働省側も加算係数も含めた原価計算のあり方について次期薬価制度改革の議論の中で検討を進める旨の回答を行っている<sup>91</sup>。

原価の開示に関しては、海外バイオテック企業から導入したシーズで医薬品を開発した場合など海外からの移転価格が原価に含まれる場合、その移転価格の内容を開示することは、特殊技術や知的財産等の複雑な権利関係が生じている昨今の最先端医薬品開発の現状からすると、ほぼ不可能とされている<sup>92</sup>。医薬品の価値を原材料費とも言える原価を基に算定するという考え方自体の不合理性が課題とされている。

### 【図3】原価の低开示率により加算がゼロとされた事例 ※いずれも中医協資料<sup>93</sup>等から協会において作成

#### 【図3-1】2022年度

<sup>85</sup> ミクスオンライン「河野行革担当相 原価計算方式にメス 「原価」の透明性求める 行政事業レビュー 年末に議論加速」（2020年11月16日）[<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=70168>]

<sup>86</sup> 厚労省保健局医療課「令和4年度薬価制度改革について（令和4年3月4日版）」

<sup>87</sup> 中央社会保険医療協議会薬価専門部会第185回議事録（2021年12月22日）参照。

<sup>88</sup> 2022年度は合計10製品、2023年度は合計8製品、2024年度は合計7製品が確認されている（図3-1参照）。

<sup>89</sup> 第587回中央社会保険医療協議会（中医協）総会において、アレクシオンファーマの「ボイデヤ錠50mg」（一般名＝ダニコパン）に対して「迅速導入加算」が初めて適用された。ただし同剤は製造原価の開示度が低かったため、全ての加算が帳消しとなった。2024年4月10日付け日刊薬業記事等参照。

<sup>90</sup> 第589回中医協総会で、ノーベルファーマの自己免疫性肺胞蛋白症治療薬「サルグマリン吸入用250µg」（一般名＝サルグラモスチム（遺伝子組換え））に対して有用性系加算の最上位に当たる「画期性加算」が6年ぶりに認められ、同剤には画期性加算（加算率＝75%）と市場性加算Ⅰ（15%）が付いた。しかし、製造原価の開示度の低さを理由に全ての補正加算が帳消しとなったため、これらの引き上げ算定ルールは薬価に反映されなかった。2024年5月16日付け日刊薬業記事等参照。

<sup>91</sup> 中央社会保険医療協議会 総会 第589回議事録（2024年5月15日）参照。

<sup>92</sup> 原価の正確な開示の困難性については、中医協薬価専門部会でも繰り返し指摘されてきているほか、関連する文献として、中村洋「革新的医薬品に対する薬価算定方法としての原価計算方式の妥当性に関する経済分析」（2002年、医療経済研究vol.11）等参照。

<sup>93</sup> 2022年4月から2024年11月までの中医協総会において報告された「新医薬品一覧表」を参照。



	収載日	製品名	会社名	補正加算	加算係数
1	2022/4/20	ビヴラツ点滴静注液	イドルシアファーマシューティカルズジャパン	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%)	0
2	2022/4/20	ウィフガード点滴静注	アルジェニクスジャパン	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
3	2022/5/25	オンデキサ静注用	アレクシオンファーマ	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
4	2022/5/25	ゼンフォザイム点滴静注用	サノフィ	・有用性加算(Ⅱ)(A=10%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%) ・先駆加算(A=10%)	0
5	2022/5/25	タブネオスカプセル	キッセイ薬品工業	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
6	2022/5/25	メブセヴィ点滴静注液	アミカス・セラピューティクス	・有用性加算(Ⅱ)(A=10%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
7	2022/8/18	ボックスゴ皮下注用	BioMarin Pharmaceutical Japan	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
8	2022/8/18	エジャイモ点滴静注液	サノフィ	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
9	2022/11/16	カプリビ注射用	サノフィ	・有用性加算(Ⅱ)(A=10%) ・市場性加算(Ⅰ)(A=10%)	0
10	2022/11/16	スベピゴ点滴静注	日本バーリンガーインゲルハイム	・有用性加算(Ⅱ)(A=5%) ・新薬創出等加算	0

【図3-2】2023年度

	収載日	製品名	会社名	補正加算	加算係数
1	2023/3/15	アーウィナーゼ筋注用	大原薬品工業株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=5% ・小児加算A=5% ・新薬創出等加算	0
2	2023/5/24	アトガム点滴静注液	ファイザー株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=5% ・市場性加算(Ⅰ) A=10% ・新薬創出等加算	0
3	2023/5/24	ネキソブリッド外用ゲル	科研製薬株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=5% ・市場性加算(Ⅰ) A=10% ・新薬創出等加算	0
4	2023/8/9	シエンレンカ錠	ギリアド・サイエンシズ株式会社	・有用性加算(Ⅰ) A=35% ・市場性加算(Ⅰ) A=10% ・新薬創出等加算	0
5	2023/8/9	シエンレンカ皮下注	ギリアド・サイエンシズ株式会社	・有用性加算(Ⅰ) A=35% ・市場性加算(Ⅰ) A=10% ・新薬創出等加算	0
6	2023/8/30	オンキヤスパ点滴静注用	日本セルヴィエ株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=5% ・小児加算A=5% ・新薬創出等加算	0
7	2023/11/22	ウゴーピ皮下注	ノボルディスクファーマ株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=5% ・新薬創出等加算 ・費用対効果評価(H1)	0
8	2023/11/22	メグルダーゼ静注用	大原薬品工業株式会社	・有用性加算(Ⅱ) A=10% ・市場性加算(Ⅰ) A=10% ・新薬創出等加算	0

【図3-3】2024年度



	取載日	製品名	会社名	補正加算	加算係数
1	2024/4/17	ソキンヴィカプセル	アンジェス株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (I) A=45%</li> <li>市場性加算 (I) A=15%</li> <li>新薬創出等加算</li> </ul>	0
2	2024/4/17	ボイデヤ錠	アレクシオンファーマ合同会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (I) A=40%</li> <li>市場性加算 (I) A=10%</li> <li>迅速導入加算A=10%</li> <li>新薬創出等加算</li> </ul>	0
3	2024/4/17	レプロシル皮下注用	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (I) A=45%</li> <li>市場性加算 (I) A=10%</li> <li>新薬創出等加算</li> <li>費用対効果評価 (H1)</li> </ul>	0
4	2024/5/15	ピキセオス配合静注用	日本新薬株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (I) A=45%</li> <li>市場性加算 (I) A=10%</li> <li>新薬創出等加算</li> </ul>	0
5	2024/5/15	サルグマリ吸入用	ノーベルファーマ株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>画期性加算A=75%</li> <li>市場性加算 (I) A=15%</li> <li>新薬創出等加算</li> </ul>	0
6	2024/11/20	ファダプス錠	ガイドーファーマ株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (II) A=5%</li> <li>市場性加算 (I) A=10%</li> <li>新薬創出等加算</li> </ul>	0
7	2024/11/20	テッペーザ点滴静注用	アムジェン株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>有用性加算 (I) A=45%</li> <li>市場性加算 (I) A=10%</li> <li>新薬創出等加算</li> <li>費用対効果評価 (H1)</li> </ul>	0

### 薬価改定の概要と課題

新規取載時の薬価が決まり、保険適用を経て市場に流通した後も、我が国では医薬品の市場実勢価格を公定価格である薬価に適時反映させ国民負担を軽くすることを目的として、2年に1度の定期的な見直し（薬価改定）がなされている。さらに、2016年のいわゆる「4大臣合意」<sup>94</sup>に基づき、2021年からは、中間年（毎年）改定が実施されるようになった。全品目を対象として市場実勢価格を調査し、市場価格との乖離率が大きい品目の薬価に限定して引き下げが行われることとなっている<sup>95</sup>。

中間年（毎年）改定に関しては、2年に1回の改定がなされていた時期よりも価格の下落スピードが早くなったとして、製薬業界から強い反発がなされている。他方で、薬価の改定の度に価格が下がるのは、医薬品の流通構造にも要因があることが指摘されており、流通構造における課題も長年議論されている<sup>96</sup>。例えば、製薬企業から医薬品卸企業に対する販売価格（仕切価）を下回る価格水準で医療機関に医薬品が納入され、その差額分について製薬企業による補填（割戻し）が行われているという実態がある。

また、薬価算定時の予想を大きく上回る販売量を記録した医薬品に対して、その価格を最大25%引き下げる「市場拡大再算定」に関しては、医療保険財政への想定外の悪影響を軽減するという観点から一定の合理性があり、公的保険財源を用いている諸外国でも類似の仕組みは存在している<sup>97</sup>。しかし、再算定の対象となった医薬品と主たる効能・効果が類似している医薬品も薬価引き下げの再算定の対象となる、いわゆる「共連れ」ルールに関しては、製薬業界から近年の競合性の複雑さの指摘や企業の予見性への配慮を求める意見が出されていた。そこで、特定の領域では、類似薬であっても品目によって効能が様々であり、効能が一つでも重複すれば類似薬として再算定の対象となる状況があることを踏まえ、2024年度以降、中医協が定める特定の領域に関しては適用除外とする見直しがなされた<sup>98</sup>。

さらに、日本経済のデフレ脱却とともに物価上昇が高い水準で持続的に推移するようになれば、そのインフレをどのように薬価に反映させるのかも今後議論が必要となる。

<sup>94</sup> 厚生労働省「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（2016年12月20日）

<sup>95</sup> 2024年における薬価と市場実勢価格との平均乖離率は過去最低の約5.2%となっている。第229回中医協薬価専門部会における厚生労働省資料[<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001344739.pdf>]参照。

<sup>96</sup> 厚生労働省「医療用医薬品の流通の改善に関する懇談会」[[https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-isei\\_127251.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-isei_127251.html)]

<sup>97</sup> 我が国と同様の公的医療保険制度を導入しているフランスでも、薬価取載後、3年間の売上が需要予測以上となった場合は価格が引き下げられる。

<sup>98</sup> 厚生労働省「市場拡大再算定に関する対応について」[<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001231606.pdf>]参照。





## イ 費用対効果評価制度の概要と課題

### 概要

医薬品の価格が公的保険財源によって支えられている以上、保険償還の適用範囲に関しては国家財政との関係は切り離せない。諸外国でも、次々に登場する高額な医薬品への対応に苦慮しており、財政的な制約から様々な施策がとられている<sup>99</sup>。QALY と費用に着目した費用対効果の評価する仕組みも欧州諸国で広く取り入れられているが、保険償還可否への活用状況に関しては国により異なっている<sup>100</sup>。また、費用対効果評価の結果を保険償還に反映している国では、その費用対効果の評価するまで患者の当該医薬品へのアクセスが遅れる傾向がある<sup>101</sup>。

日本においては、これまでも有効性や安全性といった効果に基づいて薬価（患者や支払者にとっては費用）が政府により算定され、費用対効果の考え方が取り入れられてきた。さらに、欧州で普及している QALY と費用に着目した費用対効果評価制度が薬価制度を補完する役割として 2018 年から導入された<sup>102</sup>。ただし、国民の医薬品へのアクセスを阻害しないため、保険償還の可否判断に用いるという仕組みは採用されておらず、薬価制度により算定された薬価を調整することになっている。費用対効果評価の制度化以降の 2019 年度から 2023 年度までの間で、評価がなされたのは合計 32 品目だが、いずれも薬価の引き下げに留まっており、価格が引き上げられた例は見られない<sup>103</sup>。

### 課題

2024 年 6 月に公表された「骨太方針 2024」では、「引き続き迅速な保険収載の運用を維持した上で、イノベーションの推進や現役世代等の保険料負担に配慮する観点から、費用対効果評価の更なる活用の在り方について、医薬品の革新性の適切な評価も含め、検討する。」<sup>104</sup>と明記された。同年 4 月における財政制度等審議会の議論の際には、費用対効果評価の活用拡大として「保険償還の可否判断への活用」も含まれていたが、諸外国の例<sup>105</sup>のように、費用対効果評価を新薬の保険償還の可否判断に用いることは迅速な保険収載とトレードオフ関係にあるところ、日本国民の医薬品アクセスを阻害することは望ましいとは言えず、関係者間で広いコンセンサスを得ることは難しいという事情がある。関係省庁間における調整等を経て、最終的に公表された骨太の方針において国民の医薬品アクセスに配慮する趣旨の文言（「引き続き迅速な保険収載の運用を維持」）が入ったことは、政府としての、従来からの我が国の基本的な考え方を堅持する姿勢が示されたものと言えるだろう。他方で、財務省資料では費用対効果自体の実施体制の脆弱性も課題として指摘されているところ<sup>106</sup>、これまでの議論の経緯も踏まえ、活用拡大においては慎重な議論が必要となる。

また、費用対効果評価の活用による財政負担の圧縮というアプローチにおいては、医療用医薬品

<sup>99</sup> 例えば、フランスで採用されているクローバック制度は、保健省が医薬品出荷額の成長上限率を設定し、それを超えた成長があった場合に、超えた額に応じて還付金が課せられる仕組みである。

<sup>100</sup> 中医協における福本参考人提出資料[[https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002zgsd-att/2r9852000002zgw6\\_1.pdf](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002zgsd-att/2r9852000002zgw6_1.pdf)]、国立保健医療科学院「海外の状況（フランス、ドイツなど）」[<https://c2h.niph.go.jp/assessment/abroad-2/>]、PhRMA「医薬品の費用対効果について」[<https://www.phrma.jp/org/hta/>]等参照。

<sup>101</sup> PhRMA「Time from Global First Launch to Public Reimbursement in G20 Countries Varies from 4 to 81 Months on Average」参照。

<sup>102</sup> 本格的な導入までには、医療の高度化への対応として 2016 年から試行的に導入することが 2015 年の骨太の方針において言及され、具体的内容について検討が重ねられた。

<sup>103</sup> 国立保健医療科学院「費用対効果評価の制度化以後(2019.4~)に選定された品目」[<https://c2h.niph.go.jp/results/item.html>]、大谷博史ほか「費用対効果評価制度の概要と今後の方向性」（2021 年、有限責任監査法人トーマツライフサイエンス事業ユニット）6 頁等参照。

<sup>104</sup> 「経済財政運営と改革の基本方針 2024 について」（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

<sup>105</sup> 英国では 15 か月、カナダやフランスでは 20 か月以上を新薬承認から保険償還までに要している。中医協費用対効果評価専門部会（令和 3 年 8 月 4 日開催）における米国研究製薬工業協会(PhRMA)資料[<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000816091.pdf>]参照。

<sup>106</sup> 財務省 財政制度等審議会財政制度分科会「こども・高齢化」資料（2024 年 4 月 16 日）



のさらなるスイッチ OTC 化の促進といったような、薬価抑制以外の考え方も同時に検討していくべきである。

## ② 今後の方向性：薬価制度と費用対効果評価制度の整合的運用へ向けて

グローバルな創薬エコシステムにおいて我が国の存在感を高めていく上では、創薬力の向上、製造拠点としての機能強化、そしてイノベーションの適正な評価がなされる国内市場が必要である。その際、日本市場の優位性の1つである公的医療保険制度の根幹である、政府による価格決定、迅速かつ広範囲な保険償還については前提条件として議論するべきである。

例えば、日本では、承認後に広範囲で迅速な保険償還を維持するため、薬価を含む診療報酬点数は政府によって決められている。この基本的な考え方を変更するためには、様々な関係者との議論が必要となり、かえって議論が停滞する可能性もあることから現実的ではない。また、欧米で採用されているような交渉による価格決定方式を採用する場合には、製薬企業と保険者との間における薬価交渉により多くの時間を要し、結果として国民の医薬品へのアクセスが制限されるばかりか、薬価が高額化し医療費上昇圧力につながる可能性もあることから得策とは言い難い。

費用対効果の評価する考え方は、国民皆保険の維持とイノベーションの両立という難しい課題に向き合う上で、1つの有効な解決策として検討に値する。ただし、その具体的な活用のあり方については、我が国において薬価制度を補完する制度として導入された経緯も踏まえ、両制度の整合的運用に十分留意した議論が必要である。

### 保険償還の可否判断ではなく適正使用の拡大への活用

財政制度等審議会において提言がなされているように、費用対効果評価の結果を医薬品の保険償還の可否判断に用いる場合、欧州諸国のように保険償還までの期間が1年数か月以上を要することになる。その場合には、我が国の基本原則である国民の迅速なアクセスに支障が生じることは既に述べたとおりである。そもそも、欧州諸国では日本と異なり国が新薬の価格を決定している訳ではないことから、費用対効果評価は価格の適正性を担保するという位置づけである点も我が国とは異なる。そうした前提を踏まえれば、日本において欧州諸国と同様に費用対効果評価の結果を保険償還の可否判断に用いることは得策ではないと考えられる。実際、「骨太方針 2024」においてもその点が考慮され、費用対効果評価の更なる活用の在り方については「引き続き迅速な保険収載の運用を維持した上で」検討することとされた<sup>107</sup>。

一方で、QALY と費用に着目した費用対効果評価の考え方をを用いて、「費用増加」（効果が同等で費用が増加）と公的に評価された品目や対象患者群への処方制限のほか、逆に評価対象の品目が「ドミナント」（効果が高く費用が削減）あるいは「費用削減」（効果が同等で費用が削減）とされた場合には、その比較対照となった品目・対象群への処方制限の設定等も検討が求められる。

### 原価計算方式の見直しと費用対効果評価の活用

費用対効果評価に関しては、原価計算方式の課題を克服することに用いることも検討の余地がある。既に述べたとおり、現行の薬価制度の問題点の1つとして、原価の開示率に応じた減額制度によって、イノベーションの評価が結果的に加算に一切反映されないという事態が近年生じている。2022年度の薬価制度改革において開示率50%以下の場合の加算係数が0.2からゼロとする見直しが行われた際には、薬価算定の透明性向上のために一定の合理性を有していたと考えられる。しかし、その後、国際的な創薬環境における原価の開示の困難性が一層明らかとなり、同制度がイノベーションを阻害しているという事実（図3参照）が積み重なって来ている。薬価制度におけるイノベーションの推進を目的とした加算の強化を無駄にしないよう、改めて、創薬エコシステム構築のための我が国全体の取組の一貫として、この問題を議論の俎上に載せることが望ましい<sup>108</sup>。

革新的な医薬品ほど比較対象となる類似薬がなく、原価計算方式を用いざるを得ないという課題に対しては、原価計算方式の対象となる医薬品の範囲をより限定する方向性が望ましい。そのため

<sup>107</sup> 「経済財政運営と改革の基本方針 2024 について」（令和6年6月21日閣議決定）

<sup>108</sup> なお、2024年5月の中医協総会において、6年ぶりの画期性加算が開示度によってゼロとなったケースに対して、診療側委員から画期性加算の適用対象になった医薬品に対する配慮が求められた際、厚生労働省側から次期制度改革の議論において検討する旨の発言がなされている。第589回中医協総会議事録参照。



に費用対効果制度における比較対照の選定方法を参考にすることが考えられる<sup>109</sup>。

なお、薬価制度においては、イノベーションを評価するため、度重なる改定で薬価が下落しているような古い薬は新薬の薬価算定時に参照されないルールとなっている。費用対効果評価制度ではそのようなルールがなく、現場の臨床実態に反映させた比較対照を選ぶため、そうした古い薬も参照され得ることが課題である。そのため、比較対照を参考にするには、工夫が必要である。

### 薬価制度と費用対効果評価制度の間の整合性確保

現在の制度では、薬価算定時について加算分が費用対効果評価で帳消しになってしまうケースが増えてきている。例えば、注射剤から経口薬への剤型変更による患者の利便性向上など、費用対効果評価では評価されないイノベーションも、薬価制度では有用性加算等で評価されている<sup>110</sup>。薬価算定から費用対効果評価の間の比較的短い期間で薬価が変わることとなり<sup>111</sup>、制度間の整合性の欠如と捉えられかねない。また、企業の予見性の観点からも望ましいとは言えない。今後、制度間の整合性も図っていく必要がある。

費用対効果評価との運用の整合性を図っていくという意味では、費用対効果評価においても、上記のような患者の QOL に関連するイノベーションの評価を維持するために、費用対効果評価による価格調整は QOL に関連するものを加算することに限るなど、費用対効果が高いと評価された品目については、価格を引き上げる等の仕組みも検討されるべきである。

その際、薬価算定と費用対効果評価のいずれの場面においても、科学的な根拠に基づき同じ既存薬/治療法と比較することが重要である。また、検討の結果、かなり古い薬と比較することになる場合、当該医薬品の薬価は相当低くなっていると考えられることから、率で評価すると低い加算となってしまうことが想定される。その場合には、薬価算定におけるイノベーション評価のため、加算については率ではなく、あらかじめ決められた額で評価することも検討の余地がある。もっとも、具体的に額を検討する場合には、その妥当性の評価や上限の決定においては十分な根拠に基づき、関係者間で広く議論されることが求められる。

また、政府は、制度の安定的運用、政策変更の前広な周知・段階的な実施など、制度的な面における予見性の向上による開発インセンティブ向上にも十分留意することが必要である。

### 開発コスト削減・開発期間短縮への支援

新薬のイノベーションの価値を適切に評価した結果として、高額な薬価が付いた場合には、実際の処方数によっては医療保険財政が厳しくなる可能性がある<sup>112</sup>。そこで、当該医薬品が実際に処方される量を適正にすることで、財政的インパクトを抑える必要性が生じる。現在も、24 製品に関して最適使用推進ガイドラインが作成され、使用に係る患者及び医療機関等の要件を示す等、保険償還の範囲をコントロールすることで量の適正化が図られている<sup>113</sup>。他方で、量の適正化が図られる

<sup>109</sup> 詳細な説明は、中村洋「薬価制度ならびに費用対効果評価制度を取り巻く課題と課題解決の方向性ーイノベーションの評価向上と薬剤費の適正化の両立のためにー」（国際医薬品情報、2024年8月）参照。

<sup>110</sup> 例えば、新型コロナウイルス感染症治療薬として承認されたある抗ウイルス剤は経口薬に剤型を変更したことによる「利便性」が評価され10%の有用性加算がつけられたが、費用対効果評価の際には、そうした QALY に反映されないイノベーションが評価されず、薬価算定で認められた加算のほとんどが帳消しになった。中村洋「薬価制度ならびに費用対効果評価制度を取り巻く課題と課題解決の方向性ーイノベーションの評価向上と薬剤費の適正化の両立のためにー」（国際医薬品情報、2024年8月）参照。

<sup>111</sup> 保険収載後、中医協において品目選定がなされ、企業分析（最大9カ月）、公的分析（最大6カ月）、総合的評価（最大3カ月）を経て中医協で評価が決定される。費用対効果評価の分析・評価の流れについては、中医協資料 [<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000808909.pdf>] 等参照。

<sup>112</sup> 例えば、がん治療薬の「オブジーボ」は2014年の承認時に約73万円（一瓶100mg10mL）の価格が付いたが、その後適用拡大によって対象患者数が飛躍的に増大し、大幅な財政負担の増加が危惧された。2016年の中医協で緊急薬価引き下げが了承されると、2017年の特例拡大再算定等、毎年の急速な薬価引き下げの結果、当初の収載価格の5分の1程度となった。黒河昭雄「レギュラトリーリスクと制度的な公正性ーがん免疫治療薬「オブジーボ」をめぐる緊急薬価改定を事例に」（2023年6月、東京財団政策研究所） [<https://www.tkfd.or.jp/research/detail.php?id=4270>] 等参照。

<sup>113</sup> PMDA ウェブサイト [<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0028.html>]。なお、対象となる医薬品を選定する手順等は、厚生労働省通知（令和4年9月30日薬生薬審発0930第1号/保医発0930第1号）参照。



ことは、製薬企業にとっては経済的利益が抑えられることにもつながるため、企業の利益に影響を与える「価格」「販売量」という観点からは、必ずしも開発インセンティブの向上に結びつかない。

### 期待利益＝期待値（薬価×販売量×期間－コスト）

総合的な企業経営の観点からは、早期の上市による「販売期間」の拡大や、「コスト」を圧縮する支援を行うことで、投資の回収等の経済的利益が見込まれる。政府の施策についても、そうした開発インセンティブ向上につながる支援が求められる。例えば、AI創薬や治験データベース構築への支援<sup>114</sup>は期間短縮、コスト低減につながり、その結果として、患者の革新的な医薬品への早期アクセスも期待できる<sup>115</sup>。

このような支援は、業界側にとってもメリットが大きいことから、業界側も資金を拠出して、その環境整備に貢献することが重要である。

## （3）医療保険財政

### ① 背景と分析

我が国の医療費は2021年度には45兆を超え、20年前との比較では4割以上増加している<sup>116</sup>。2013年に300件であった高額レセプト（1,000万円以上）は、2023年には2,156件と急激な伸びを見せている<sup>117</sup>。「骨太方針2024」でも医療費適正化について言及されており、イノベーションへの評価向上とともに対処が求められる<sup>118</sup>。

医療費適正化については、ジェネリック医薬品の置換え比率が2022年度に8割を超えるなどこれまでも政府による取組が進められているが、イノベーション評価の原資を確保する観点では、長期収載品の薬価引き下げ、ジェネリック医薬品の更なる浸透、過度な多剤併用／抗菌薬使用の抑制、適切なセルフメディケーションの推進など、更なる施策の推進が求められる。

薬剤費に関しては、医療費上昇抑制が社会課題となる中、その2割を占める薬剤費は取組の重要性が高い項目と認識されてきた<sup>119</sup>。そうした中、政府は薬価を抑えて財源を捻出してきたが、そうしたアプローチが我が国の創薬イノベーションの阻害要因であるとの批判が高まっている<sup>120</sup>。革新的新薬が高額化する中、薬価の予見性は企業のみならず財政当局にとっても重要なテーマである。すなわち、企業にとっては、個々の薬価の予見性が重要であり、財政当局にとっては、薬価の積み上げとしての総薬剤費が重要となっている。

国民医療費が増加を続ける中、薬剤費に関しては、厚生労働省の有識者検討会においてもマクロ的な視点から議論された経緯がある。経済成長率（GDP）に合わせて薬剤費を増加させるマクロ経済スライドの考え方を採用すべき、との民間側からの主張に対しては、構成員から両者を直接結びつけることへの消極意見もなされた<sup>121</sup>。財務省は財政的予見性の観点から、マクロ経済スライド制に合理性があるとの見解を示している<sup>122</sup>。また、2024年に行われた自由民主党の総裁選挙では、

<sup>114</sup> 既に構築されているシステムとして「臨床研究等提出・公開システム」(JRCT)<https://jrct.niph.go.jp/>がある。こうした動きを更に進めていくことが期待される。

<sup>115</sup> 例えば、中外製薬株式会社はAI技術についてPreferred Networksと包括的パートナーシップを締結し共同研究開発を進めている。[\[https://www.chugai-pharm.co.jp/profile/digital/ai\\_technology.html\]](https://www.chugai-pharm.co.jp/profile/digital/ai_technology.html)

<sup>116</sup> 厚生労働省「令和3(2021)年度 国民医療費の概況」（2023年10月24日）

<sup>117</sup> 健康保険組合連合会「令和5年度高額レセプト上位の概要」（2024年10月3日）

[\[https://www.kenporen.com/press/2024-10-03-16-41.shtml\]](https://www.kenporen.com/press/2024-10-03-16-41.shtml)

<sup>118</sup> 「経済財政運営と改革の基本方針2024について」（令和6年6月21日閣議決定）

<sup>119</sup> 厚生労働省「薬剤費等の年次推移について」（第207回中医協薬価専門部会資料、令和5年8月23日）

<sup>120</sup> 日刊薬業「薬価依存は「限界」、改定は難しい対応に 自民・橋本氏」（2023年10月2日付け記事）

<sup>121</sup> 厚労省「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」第11回議事録

[\[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_32891.html\]](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_32891.html)参照。

<sup>122</sup> 財務省「財政制度等審議会 財政制度分科会」2022年4月13日財務省資料61頁及び議事録

[\[https://www.mof.go.jp/about\\_mof/councils/fiscal\\_system\\_council/sub-of\\_fiscal\\_system/proceedings/index.html\]](https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/proceedings/index.html)参照。



元厚生労働大臣から物価に連動した薬価の見直しも提言されている<sup>123</sup>。製薬企業からは、毎年下落する薬価、市場拡大再算定等を例示し、薬価に関して予見性を求める声が継続的に挙がっている<sup>124</sup>。

## ② 目指すべき方向性

企業と財政当局双方にとっての予見性向上の観点では、薬剤費の変化に対する目安としてのゾーン制（一定幅）を設定することが考えられる。このゾーンはあくまで「目安」であり、例えば3年から5年程度で設定され、政策を判断する際の指針となる。2010年代前半は薬剤費の伸びが多くなりすぎたために10年代後半の大幅な薬剤費抑制策につながり、そこからは逆に抑制方向のみであり過ぎたためドラッグラグ・ロスを引き起こす原因となったためである。上限を定めることは財政当局にとっての予見性向上につながり、下限を定めることは企業にとっての予見性向上につながる事となる。適正水準の幅は名目GDPの伸びより高く、薬剤費を除いた医療費の伸び額より低くするなど、企業のイノベーション評価向上に資する考え方も採用するべきである<sup>125</sup>。そして、薬剤費の変化が上記のゾーンを継続的に外れるようであれば、その変動に応じた政策をとる<sup>126</sup>。このようにすれば、例えばゾーン下限を継続的に下回りドラッグラグ・ロスの問題が悪化すれば薬剤費を上昇させることも議論可能になる。

また、ここで「目安」としたのは状況に応じた柔軟な対応の余地を残すためである。革新的な医薬品によって従来の医療行為が不要になり、結果的に薬剤費の伸びがゾーン上限を超える場合や、逆に重複投与の抑制など賢い選択の進展で薬剤費の変化が下限以下になった場合などは、社会にとって悪い状況ではないため、新たに政策的に対応する必要はない。

## 適正化

革新的な医薬品は、投薬によって病気を完治させることができた場合には、処方期間を従来より大幅に短縮することができる。また、従来は手術等をしなければ治癒できなかった病気に対して、投薬によって治癒できることが可能となれば、侵襲性の高い医療行為が不要となる<sup>127</sup>。そのため、薬価が高額であった場合でも、革新的医薬品は薬剤費への影響は一過性であるとも言える。加えて、高薬価の医薬品は、対象患者数が少ない希少疾病用医薬品が多いことから、薬剤費全体に与える影響は小さい。

また、現在も一部の医薬品に関しては最適使用推進ガイドラインが作成され、対象患者・施設の絞り込みや留意事項が明記されている。費用対効果評価を当該品目自体の保険償還の可否判断に使うのではなく、経済的負担を含めた適正使用の拡大の観点から、低薬価の既存薬や運動療法などの非薬物療法でも同等の治療効果が期待される場合等も含めた適正使用が拡大されれば、高薬価が薬剤費高騰に結び付く懸念をある程度払拭することができるだろう。

ただし、対象患者数が多い場合など、薬剤費の抑制にも限界があるため、いずれにせよイノベーション評価のための原資の確保策は一層進めていく必要がある。政府は長期収載品の薬価引き下げやジェネリック医薬品の更なる浸透を進めており、こうした取組を一層推進するほか、過度な多剤併用／抗菌薬使用の抑制、適切なセルフメディケーションの推進等を通じて、他の薬剤費の適正化

<sup>123</sup> 日刊薬業「インフレ前提に『物価連動の薬価を』自民・加藤氏、総裁選出馬で公約」（2024年9月10日付け記事）

<sup>124</sup> 中医協薬価専門部会の議事録等[[https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo\\_128157.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128157.html)]

参照。

<sup>125</sup> 中村洋「薬価制度ならびに費用対効果評価制度を取り巻く課題と課題解決の方向性ーイノベーションの評価向上と薬剤費の適正化の両立のためにー」（国際医薬品情報、2024年8月）参照。

<sup>126</sup> 中村洋「医薬品をめぐる諸問題についてー薬価改定における調整幅、イノベーション推進、薬剤費マクロ経済スライダー」（社会保険旬報、2022年8月）参照。

<sup>127</sup> 武藤正樹氏は、著書「日本から薬が消える日」（2024年5月、ぱる出版）239頁において胃潰瘍の薬が日本で発売されてから外科手術が不要となった例に触れ、革新的新薬に治療法を根本から変える力があることを述べている。



と一体で薬剤費増加を適切に抑制するべきである<sup>128</sup>。

### 第3章 まとめ（提言）

最後に、改めて現在の我が国が抱える危機意識と取るべき方向性について整理する。大きな転換点として、2020年前後のコロナウイルス感染拡大における日本のワクチン開発の遅れが社会に大きな危機意識を抱かせるきっかけとなったことは記憶に新しい。創薬力の低下に加えて、サプライチェーンにおける高い海外依存、さらに、ドラッグ・ラグ/ロスの問題提起は、国民の健康を守るという国家の大きな役割が、我が国において十分に果たされていないという事実を突きつけることとなった。

本稿では、我が国が上記の役割を果たすとともに、国際的な創薬エコシステムやサプライチェーンの中で日本の存在感を高めていくための方策について検討してきた。

今、必要とされているのは、日本における創薬力の強化、国民・患者の医薬品へのアクセスを安定的に確保するためのイノベーションへの評価向上と医療保険財政の健全性確保の両立である。

#### 1. 日本における創薬力強化と国際的サプライチェーンにおける存在感向上

本稿では、日本における創薬力強化について、4つの点を指摘したい。

第一に、10年単位での中長期的で戦略的な取り組みが必要である。日本はこれまで低分子創薬に強みを有し国際的に見て高い競争力を誇っていたが、世界の新薬開発の中心が高分子創薬に移るにしたがって、日本の創薬力は相対的に低下した。創薬力を短期間で劇的に引き上げることは困難であり、中長期的で戦略的な取り組みが求められる。

第二に、創薬力を強化するための方向性は、日本がこれまで強みとしてきて比較優位を持つ「モノづくり」を核とした日本独自の特徴のある創薬エコシステムの構築であり、以下の理由から、海外の創薬エコシステムとの連携のみならず棲み分けを図るべきである。

- 大学・バイオテック企業を軸とした米国の創薬エコシステムと同様のシステムを日本で構築してもグローバルな創薬エコシステムにおいて差別化を図ることは難しい。また、日本が単独で世界水準の創薬力の強化を図ることは現実的ではなく、海外のエコシステムとの役割分担による棲み分けを通じ、日本の存在感を向上させることが必要である。
- グローバルなサプライチェーンでの役割分担において、日本が中心的な役割を果たしうるのは、日本がこれまで強みとしてきて比較優位を持つ「モノづくり」の分野であり、今後、中長期的な円安傾向も活用して高い競争力を獲得することが可能であると考えられる。具体的な支援として、最先端テクノロジーに基づく製造施設誘致等の日本に対する投資への支援のみならず、産業の裾野を拡大する観点から CDMO（医薬品開発・製造受託機関）・CMO（医薬品製造受託機関）へのさらなる支援も求められる。
- また、製薬企業とは異なるノウハウを持つ異業種企業の活用が重要である。既に民間レベルでその動きは萌芽的に見られており、動きを拡充するための施策を講じることが求められる。医薬品産業が基幹産業になるには、製薬企業のみならず、異業種企業を活用し、産業としての裾野も広げることが求められる。
- 日本において医薬品分野における「モノづくり」を進めて創薬基盤を拡充するためには、研究開発や製造分野に携わる様々な分野の人材を育成することが重要である。既に国内に存在する拠点も活用し、中長期的な観点で人材育成を図るべきである。
- 地方における製造設備や機能の拡大は、雇用確保、産業育成に貢献し、政府が掲げる目標である「地方創生」にも寄与する。他分野の成功事例も参照しつつ、意欲のある地方自治体との連携を進めるべきである。

<sup>128</sup> 例えば、医師の診察が必要とは考えられないケースでは、スイッチ OTC 医薬品を一層推進していくことで、財源抑制に貢献するのみならず、勤務医の働き方改革にもつながることが期待される。スイッチ OTC に関しては日本パブリックアフェアーズ協会「偽造医薬品横行の個人輸入問題と、スイッチ OTC 医薬品推進のための5つの提言」（2023年10月2日）等参照。



- ・ 日本における「モノづくり」が進み、日本発の革新的医薬品の国際競争力が強化されれば、医薬品における貿易赤字の縮小にもつながることが期待される。

第三に、日本発のベンチャー企業育成による創薬支援も、海外の創薬エコシステムとの連携で海外の経営資源（資金、人材、ネットワークなど）を活用しつつ引き続き強化していくべきである。さらに今後は、その資源の一部を日本で代替できるように、国内経営資源の蓄積を進めることが求められる。

第四に、政府による支援は、国家間の公平な競争条件確保という観点で、日本への投資が不利にならないように進めるべきである。一方で、税制・補助金を受けた企業がモラルハザードを起こさないように、政府が一定の目標を掲げ、成果を達成した企業により多くの資金を振り向けるなどの仕組みを強化するべきである。また、支援に用いる資金の安定的な確保の観点から、支援の結果、成功したプロジェクトから支援した資金の一部を回収し、今後の支援の財源確保のために還流させることも諸外国の事例を参照しつつ検討するべきである。

## 2. イノベーションへの評価向上と医療保険財政の健全性維持・向上の両立

国民・患者の医薬品へのアクセスを安定的に確保するためには、イノベーションへの評価を向上させることで革新的な医薬品の開発を促進させるだけでなく、医療保険財政の破綻懸念が高まらないよう財政の健全性を確保しなければならない。

### (1) ドラッグ・ロスについての詳細な分析と広報の強化、ラグ解消のための承認申請までの開発プロセスの迅速化

昨今ドラッグ・ロスが注目されているが、単に「海外において承認済だが日本で未承認の医薬品」の数のみに着目した現状把握では、対策を誤ることになりかねない。例えば、海外において承認済だが日本未承認の医薬品の中には、「より優れた医薬品が既に上市されている前世代の未承認薬」も含まれ得るが、そうした医薬品の数は考慮に入れるべきではないだろう。また、海外では、承認済でも費用対効果が悪いとために保険償還されない医薬品も多数存在している。そうした医薬品も、患者アクセスという観点では、日本における未承認薬と同一視できる。

したがって、上記の観点を踏まえ、具体的にどのような医薬品でドラッグ・ロスが発生しているのか詳細な分析を進めることが必要である。例えば、海外において優先審査を受けるなど、ニーズが高いと評価された革新的な医薬品を対象とした日本におけるドラッグ・ロス発生の有無、といった調査・研究が求められる。

一方で、海外の中堅のバイオテック企業が開発し、市場性に乏しいなどの理由で大手製薬企業が導入しなかった新薬は、日本におけるドラッグ・ロスが起きている可能性が高いと考えられる。それらの企業は、日本市場について詳しくないため、日本の制度の良い面（迅速で広範囲な保険償還、国民皆保険、高額療養費制度など）も正確に理解してもらうための広報を強化するべきである。

承認の遅れ（ドラッグ・ラグ）については、日本における治験の活性化のみならず、企業が承認申請するまでの開発プロセスを迅速化することが求められる。例えば、治験データベース構築の推進のみならず、製薬業界と PMDA が連携協力し、承認申請に特化した AI 翻訳システムの構築や治験の日本人データが真に必要なネガティブリストの作成等を進めるべきである。

### (2) 原価計算方式の見直しと対象の更なる限定

真に革新的な新薬に対しては、薬価面での高い評価を与えるべきである。革新的な医薬品は、薬価が高額であっても、同医薬品の処方によって病気が完治したり手術などの医療行為が必要なくなったりすることが見込まれる場合、薬剤費増は一過性に終わる。

類似薬がないほどの革新的な医薬品に適用される原価計算方式は、医薬品開発により多く企業や研究機関がかかわるようになり原価を正確に把握することが困難になっているにもかかわらず、十分な開示を行わないと薬価が引き下げられる仕組みになっており、イノベーションへの評価を阻害している。したがって、現在の仕組みの見直しを検討し、原価計算方式の対象となる医薬品の範囲をより限定することが望ましい。そこで、原価計算方式が適用された医薬品でも比較対照技術が設定されている費用対効果評価の手法の活用を検討する必要がある。ただ、その手法は QALY に反映

されないイノベーションを評価していないなど留意すべき点があるため、その手法を参考にする際には、工夫が必要である。

### (3) 迅速な保険収載を維持した費用対効果評価の更なる活用

我が国では、迅速で広範な保険償還を達成するために、医薬品の有効性と安全性という効果に基づき薬価（支払い側からすれば費用）が政府によって決められている（第一段階の費用対効果評価）。また、薬価制度を補完的する役割として、QALY と費用に着目した費用対効果評価（第二段階の費用対効果評価）が近年導入された。

一方で、特に欧州において、第一段階の費用対効果が存在せず上記の QALY に着目した第二段階の費用対効果評価が実施されることで当該薬剤の保険償還を遅らせ、患者の医薬品へのアクセスを妨げているという側面も否定できない。そのため我が国では、その第二段階の費用対効果評価は当該品目の保険償還の後に行われ、保険償還の可否の判断でなく価格調整のみに活用されている。

したがって、骨太の方針でも明記されたように、「費用対効果評価の更なる活用」においては、「引き続き迅速な保険収載の運用を維持」することが求められる。

### (4) 薬価制度と費用対効果評価制度の整合的運用

薬価算定時についた加算分が（第二段階の）QALY に着目した費用対効果評価で帳消しになったケースが増えてきている。その一つの要因は、その費用対効果評価においては、患者の利便性等、QALY に反映されないイノベーションが評価されていないためである。つまり、薬価制度で認められたイノベーションに対する評価が、費用対効果評価で否定されている。他の要因は、比較の方法が異なることである。

これらの要因により、薬価算定から費用対効果評価の間の比較的短い期間で、薬価が変わってしまうことは、制度間の整合性の欠如と捉えられかねないだけでなく、企業の予見性にも悪影響を与える。薬価制度と費用対効果評価制度の運用は整合的に行うことが必要である。

### (5) 開発コスト削減・開発期間短縮への支援

イノベーションの適切な評価のために薬価を上げる必要がある場合でも、上述のとおり、医療保険財政上の制約から、量の適正化と一体であることが望ましい。したがって、企業の利益に影響を与える「価格」「販売量」という観点からは、薬価引き上げは開発インセンティブの向上に必ずしも結びつかない可能性がある。

一方で、早期の上市による「販売期間」の拡大や、「コスト」を圧縮する支援を行うこと自体が、開発インセンティブ向上につながる。例えば、AI 創薬や治験データベース構築の推進は開発期間の短縮やコスト低減につながることを期待されるところ、積極的な支援が求められる。早期の医薬品開発・上市によって、患者の革新的な医薬品へのアクセスの改善も期待できる。

直接的な恩恵を受ける製薬企業側もそのコストを利用料としてある程度負担し、システム開発プロセスは膨大なデータを有する PMDA が行うという形で、関係者が適切な分担を行うことが肝要となるだろう。

### (6) 量の適性化や他の薬剤費の適性化

イノベーションへの評価向上は必要であるが、既存の比較的安価な医薬品では十分な有効性・安全性が期待できない患者群に限定して使用するなど、量の適正化と一体で運用すべきである。

これまで最適用推進ガイドラインなどが導入されているが、さらに費用対効果評価などで対象患者や施設の絞り込みなどを通じた適正使用が拡大されれば（低薬価の既存薬や運動療法などの非薬物療法でも同等の治療効果が期待される場合など）、高薬価が薬剤費高騰に結びつく懸念はさらに小さくなる。

イノベーションの評価向上のためには、原資を確保することが求められる。具体的には、長期収載品の薬価引き下げ、ジェネリック医薬品の更なる浸透、過度な多剤併用／抗菌薬使用の抑制、適切なセルフメディケーションの推進などで、他の薬剤費の適正化と一体で薬剤費増加を適切に抑制する必要がある。

日本では、承認後に広範囲で迅速な保険償還を維持するために、薬価を含む診療報酬点数が政府





によって決められている。この基本的な考え方を変えることは、できたとしても多くの議論が必要で、時間がかかり現実的ではない。また、民間に薬価交渉を任ずとなれば、時間とコストがかかり、アクセスの遅れや医療費上昇圧力につながるため、得策ではない。

## (7) 薬剤費の変化への一定幅の設定による予見性の向上

制度の予見性確保は、開発企業にとって重要である。制度の安定的運用、政策変更の前広な周知・段階的な実施などで予見性を向上させれば、薬価上昇に頼ることなく、リスク回避的な製薬企業の開発インセンティブ向上につながる。逆に、制度の見直しが業界に対して強制的な内容を伴うものであったり<sup>129</sup>、その実施が拙速であったり、見直しの効果が乏しいものである場合には、企業の予見性が損なわれ、開発インセンティブは著しく低下する。

一方で、医療用医薬品が公的保険で賄われていることを考えれば、医療保険財政の視点での予見性確保も重要である。医療保険財政が破綻してしまえば、大幅な支出削減策を取らざるを得ず、企業にとっても、収益予測がより困難になる。

そのため、開発企業のみならず、企業と医療保険財政双方にとっての予見性向上のため、薬剤費の変化には、目安としてのゾーン制（一定幅）を設け、上限を定めることで医療保険財政にとっての予見性の向上が、逆に下限を定めることで企業にとっての予見性の向上が期待される。

なお、適正水準の幅としては、名目 GDP の伸びより高く、薬剤費を除いた医療費の伸び額より低いことが望ましい。

## おわりに

創薬力を強化し我が国の主要産業の1つに育成していくために重要なことは、狭い意味での医薬品政策に留まらず、経済安全保障、人材育成、地方創生といった我が国の重要政策の観点からとらえることである。また、産業育成の観点では、他産業の企業の事業ポートフォリオ再構築という観点も重要である。そうすることにより、この問題を製薬業界だけの問題ではなく、他の産業をも巻き込むことで業界からの発言力を高めるとともに、政府や自治体における関係省庁・部署等も横串で連携して対処しなければならないことを強く自覚させることができるだろう。

産業政策として日本全体の課題として捉えることで、補助金や税制といった政府の具体的な財政的支援を引き出すことにも繋がりやすい。諸外国の事例も参照しつつ、日本独自の財政支援のあり方を改めて構築することができれば、創薬スタートアップ企業を国家としてバックアップし、我が国が再び世界における創薬の地となるプロセスを加速させるだろう。

現在、創薬のエコシステムはグローバルなつながりの中でとらえる必要があるが、その中で、徐々に日本で分担できることを増やしていき、日本の存在感を高めていくことが重要である。

<sup>129</sup> 業界団体から、2025年度中間年改定における新創加算の累積額控除、創薬支援基金への強制的な抛却義務に反対する声明が出されている。米国研究製薬工業協会(PhRMA)・欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)「2025年度(令和7年度)薬価中間年改定、費用対効果評価及び義務的な創薬支援基金に関する共同声明」(2024年12月25日)

[[https://www.phrma-jp.org/pressroom/pressrelease/release2024/241225\\_pressrelease/](https://www.phrma-jp.org/pressroom/pressrelease/release2024/241225_pressrelease/)]参照。



## 謝辞

本稿の作成に当たり、監修を賜った中村洋 慶應義塾大学大学院経営管理研究科教授に深謝申し上げます。また、提言書を作成するにあたり、日本パブリックアフェアーズ協会主催「公的保険及び医薬品政策のあり方に関する勉強会」を立ち上げ、行政、アカデミア、企業、保険者等の様々な立場を代表する専門家に講義とディスカッションの機会をいただいたほか、活動全般を通じて、協会アドバイザーである武藤正樹 日本医療伝道会衣笠病院グループ理事、印南一郎 慶應義塾大学総合政策学部名誉教授からも助言を頂いた。貴重な機会を賜った全ての関係者の方々に感謝を申し上げます。本提言の趣旨に賛同し、協賛いただいたアムジェン株式会社にも感謝の意を表したい。なお本稿は執筆者の責任において発表するものである。



## 参考文献

- [1] 日本経済新聞「医療安全保障、同盟の基盤に コロナ危機と日米協力」(2020年6月25日)
- [2] 日刊薬業「自民・新議連『医薬品は重要な成長産業』設立総会、薬価制度など議論へ」(2024年6月7日)
- [3] 厚生労働省「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報告書」(2023年6月9日)
- [4] 厚生労働省「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた対策における現状の取組と今後の対応について」第14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1 (2024年2月28日)
- [5] 内閣官房健康・医療戦略室「『創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議』中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表」(2024年7月)
- [6] NHK NEWS WEB「広がる“ドラッグ・ラグ”小児がんで治療薬の導入遅れ 欧米と差も」(2023年1月30日)
- [7] 日本パブリックアフェアーズ協会「国民皆保険制度を次世代に引き継ぐために～給付と負担の再構築に向けた一考察～」(2021年4月1日)
- [8] 衆議院第211回国会本会議録第3号(2023年1月26日)
- [9] 厚生労働省「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」中央社会保険医療協議会薬価専門部会第123回資料(2016年12月21日)
- [10] 内閣府経済財政諮問会議「選択する未来」委員会資料(2015年10月28日)
- [11] 間野博行「世界と日本の創薬の現状」創薬力構想会議第1回資料5(2023年12月27日)
- [12] 産経新聞「医薬品の輸入超過続く 貿易赤字最大 魅力なき国内市場」(2023年4月20日)
- [13] 経済産業省商務情報政策局「半導体・デジタル産業戦略」(2023年6月)
- [14] 国際貿易投資研究所(ITI)「国際比較統計」
- [15] 国際通貨基金(IMF)「World Economic Outlook Database」
- [16] 橋本絵里子「医薬品市場における日本の存在感－日本企業の海外売上シェアの分析－」『JPMA NEWS LETTER』No. 196(2020年3月)
- [17] 厚生労働省資料「薬剤費等の年次推移について」
- [18] Global Note「世界の薬剤費 国別ランキング・推移」
- [19] 経済産業省「バイオ創薬は世界で勝負。製薬トップと日本の戦略を考える」(2022年12月1日)
- [20] ミクスオンライン「IQVIA 国内医療用薬の特許品市場 23年度までの5年平均成長率は+12.3% 市場全体は+1.9%」(2024年8月8日)
- [21] 一般社団法人新時代戦略研究所「イノベーションを評価するための薬価制度改革」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第5回資料2(2022年10月27日)
- [22] 増田耕太郎「最近の外資系企業の研究開発拠点投資の特徴」『国際貿易と投資』No.94(2013年12月)
- [23] 自由民主党政務調査会・社会保障制度調査会「創薬力の強化育成に関するプロジェクトチーム提言」(2023年5月30日)
- [24] 朝日新聞「創薬推進へ官邸主導の司令塔 有望分野を「目利き」、狙いは認知症？」(2023年9月23日)
- [25] 読売新聞「創薬力強化へ新薬の研究開発拠点…海外新興企業を呼び込み、「ドラッグロス」解消図る」(2024年8月23日)
- [26] 丸山健太「2024年の台湾経済～超過貯蓄・所得増が消費を押し上げ、外需も半導体輸出の好調続く～」三菱リサーチ&コンサルティング(2024年3月15日)
- [27] 佐藤幸人「台湾の半導体産業における国家と社会」東茂樹編『発展途上国の国家と経済』(2000年3月)
- [28] Laurence O'Dwyer et al. 'Supporting Innovation through Regulation and Science: Ireland as an Innovation Hub for Health Products', November 21, 2017



- [29] 赤木匠「医療研究シーズが「死の谷」を越えるには」三菱総合研究所『MRI マンスリーレビュー』（2018年6月）
- [30] アステラス製薬株式会社ウェブサイト「SakuLab™-Tsukuba（つくば）」
- [31] 武田薬品工業株式会社ウェブサイト「湘南ヘルスイノベーションパーク」
- [32] アイパークインスティテュート株式会社ウェブサイト
- [33] 中外製薬株式会社ウェブサイト「中外ライフサイエンスパーク横浜」
- [34] 戸邊雅則「創薬化学の側面から見た低分子医薬の将来像—低分子から中分子への広がり—」医薬産業政策研究所『リサーチペーパー・シリーズ』（2018年5月）
- [35] 第一三共株式会社ウェブサイト「ADC 技術とは」
- [36] 日経バイオテック「JCR ファーマ、独自の BBB 通過技術を抗体医薬や遺伝子治療、核酸医薬などに応用へ」（2022年3月30日）
- [37] 中外製薬株式会社ウェブサイト「創薬基盤&技術」
- [38] ペプチドリーム株式会社ウェブサイト「ペプチド創薬の進化」
- [39] エーザイ株式会社ウェブサイト「研究現場でのロボット活用」
- [40] アステラス製薬株式会社「アステラス製薬 安川電機と製薬技術とロボティクス技術の融合による革新的な細胞医療エコシステムの構築に向けた覚書を締結」（2024年5月21日）
- [41] 朴尚洙「中外製薬とオムロンが次世代ラボオートメーションで協業、非定型実験業務を自動化」MONOist（2023年7月19日）
- [42] 理化学研究所計算科学研究機構「ポスト「京」について」
- [43] Answers News「量子コンピューターは創薬に何をもたらすのか...海外大手など応用探索へ」（2021年8月30日）
- [44] 中外製薬株式会社ウェブサイト「AI を活用した新薬創出」
- [45] JAFCO「「創薬」の世界に革命を AI とロボットを駆使するバイオベンチャー」（2021年9月23日）
- [46] 日本経済新聞「競合や異業種と AI 開発で連携 「連合学習」で予測の精度高く」（2024年1月30日）
- [47] 化学工業日報「中国 CDMO 業界、米バイオセキュア法の衝撃」（2024年7月18日）
- [48] 富士フィルム株式会社「ライフサイエンス領域の事業成長加速と日本のワクチン生産強化に向けて当社国内初のバイオ CDMO 拠点を新設」（2022年10月6日ニュースリリース）
- [49] AGC 株式会社「横浜で国内バイオ医薬品 CDMO の開発・製造能力拡大を決定」（2023年12月21日リリース）
- [50] Meiji Seika ファルマ株式会社「Meiji Seika ファルマから ARCALIS 社への出資に関するお知らせ」（2024年11月14日プレスリリース）
- [51] Answers News「製薬企業 サプライチェーン「インドシフト」中国依存脱却図る」（2023年11月30日）
- [52] 内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間取りまとめ」（2024年5月22日）
- [53] ノバルティスファーマ株式会社「ノバルティス ファーマ、放射性リガンド療法生産力強化のため、1億ドル投資による篠山工場の製造施設拡張計画を発表」（2023年11月7日）
- [54] 日本経済新聞「武田薬品、血液製剤を増産 大阪工場に1000億円規模投資」（2023年3月23日記事）
- [55] 政府広報オンライン「半導体が生む経済波及効果」（2024年5月27日）
- [56] 読売新聞「[医療ルネサンス] シリーズ薬 創薬の最前線<6>バイオ薬 人材育成急ぐ」（2024年10月4日）
- [57] 経済産業省「イノベーション拠点税制（イノベーションボックス税制）について」（最終更新日：2024年9月30日）
- [58] 日刊薬業「イノベーション税制の狙いは 24年度税制改正」（2024年1月22日）
- [59] 三菱 UFJ リサーチ&コンサルティング「イスラエルにおける研究開発型スタートアップ支援施策のポイント」（2020年6月18日）



- [60] 味の素株式会社ウェブサイト「味の素グループ、米国遺伝子治療薬 CDMO の Forge Biologics 社を約 828 億円で買収」 (2023 年 11 月 13 日)
- [61] 日本たばこ産業株式会社(JT)ウェブサイト「医薬事業」
- [62] 富士フイルムグループウェブサイト「創薬支援・再生医療」
- [63] NHK NEWS WEB「広がる“ドラッグ・ラグ” 小児がんで治療薬の導入遅れ 欧米と差も」 (2023 年 1 月 30 日)
- [64] 内閣府「経済財政運営と改革の基本方針 2022 新しい資本主義へ～課題解決を成長のエンジンに変え、持続可能な経済を実現～」 (2022 年 6 月 7 日)
- [65] 内閣府「経済財政運営と改革の基本方針 2023 加速する新しい資本主義～未来への投資の拡大と構造的賃上げの実現～」 (2023 年 6 月 16 日)
- [66] 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第 I 相試験の実施に関する基本的考え方について」 (医薬薬審発 1225 第 2 号、2023 年 12 月 25 日)
- [67] 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知「希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方について」 (医薬薬審発 1023 第 3 号、2024 年 10 月 23 日)
- [68] 中央社会保険医療協議会薬価専門部会第 203 回議事録 (2023 年 7 月 5 日)
- [69] 産経新聞「米製薬、認知症薬販売終了 アデュカヌマブ、普及せず 日本では承認見送り」 (2024 年 2 月 1 日)
- [70] エーザイ株式会社ウェブサイト「「レケンビ®点滴静注」 (一般名：レカネマブ) 日本においてアルツハイマー病治療剤として 12 月 20 日に新発売」 (2023 年 12 月 13 日)
- [71] 読売新聞オンライン「創薬力強化へ新薬の研究開発拠点...海外新興企業を呼び込み、「ドラッグロス」解消図る」 (2024 年 8 月 23 日)
- [72] 東京財団政策研究所「日本のドラッグロスとドラッグラグ：現状分析と再生への提案」 (2024 年 7 月 3 日)
- [73] 日刊薬業「FIH 試験体制整備、29 年度稼働目指す 世界の創薬シーズ呼び込む構想、厚労省」 (2024 年 9 月 4 日)
- [74] 米国研究製薬工業協会(PhRMA)「意見陳述資料」中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会第 55 回 (2021 年 8 月 4 日)
- [75] U. S. Census Bureau 'Health Insurance Coverage in the United States: 2021', September 2022
- [76] 東京証券取引所(JPX)「創薬系バイオベンチャー企業について」
- [77] PMDA ウェブサイト「PMDA とは」
- [78] PMDA ウェブサイト「医薬品の承認審査の概要」
- [79] 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課「新医薬品の承認申請に際し承認申請書に添付すべき資料の提出について」 (2024 年 9 月 6 日)
- [80] PhRMA, 'Global Access to New Medicines Report', April 2023
- [81] 保健医療経済評価研究センター「費用対効果の評価方法」
- [82] 吉田晃子「新薬はなぜ、承認から 60 日で患者さんに届くのかー60 日ルールの誕生と現状、これからー」『政策研ニュース』No.66 (2022 年 7 月)
- [83] 中村洋「革新的医薬品に対する薬価算定方法としての原価計算方式の妥当性に関する経済分析」 (2002 年、医療経済研究 vol.11)
- [84] 内閣官房「経済財政運営と改革の基本方針 2024 について」 (2024 年 6 月 21 日)
- [85] ミクスオンライン「河野行革担当相 原価計算方式にメス 「原価」の透明性求める 行政事業レビュー 年末に議論加速」 (2020 年 11 月 16 日)
- [86] 日刊薬業「【中医協】迅速導入加算、初適用も召し上げ 第 1 号はアレクシオンの「ボイデヤ」」 (2024 年 4 月 10 日)
- [87] 日刊薬業「【中医協】6 年ぶりの画期性加算を召し上げ ノーベルファーマの「サルグマリン」」 (2024 年 5 月 16 日)
- [88] 厚生労働省「令和 6 年医薬品価格調査 (薬価調査) の速報値」第 229 回中央社会保険医療協議会薬価専門部会第 229 回資料 (2024 年 12 月 4 日)



- [89] 福田敬「諸外国での費用対効果評価の活用方法」第9回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会資料（2013年4月10日）
- [90] 国立保健医療科学院「海外の状況(フランス、ドイツなど)」
- [91] PhRMA ウェブサイト「医薬品の費用対効果について」
- [92] 国立保健医療科学院「費用対効果評価の制度化以後(2019.4~)に選定された品目」
- [93] 有限責任監査法人トーマツライフサイエンス事業ユニット「費用対効果評価制度の概要と今後の方向性」（2021年）
- [94] 財務省財政制度等審議会財政制度分科会「こども・高齢化」資料（2024年4月16日）
- [95] 中央社会保険医療協議会総会第589回議事録（2024年5月15日）
- [96] 中村洋「薬価制度ならびに費用対効果評価制度を取り巻く課題と課題解決の方向性—イノベーションの評価向上と薬剤費の適正化の両立のために—」『国際医薬品情報』1255号（2024年8月）
- [97] 厚生労働省「費用対効果評価制度について」中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会第53回資料（2021年4月21日）
- [98] 黒河昭雄「レギュラトリーリスクと制度的な公正性—がん免疫治療薬「オブジーボ」をめぐる緊急薬価改定を事例に」東京財団政策研究所（2023年6月）
- [99] PMDA ウェブサイト「最適使用推進ガイドライン（医薬品）」
- [100] 厚生労働省「令和3(2021)年度 国民医療費の概況」（2023年10月24日）
- [101] 健康保険組合連合会「令和5年度高額レセプト上位の概要」（2024年10月3日）
- [102] 厚生労働省「薬剤費等の年次推移について」中央社会保険医療協議会薬価専門部会第207回資料（2023年8月23日）
- [103] 日刊薬業「薬価依存は「限界」、改定は難しい対応に 自民・橋本氏」（2023年10月2日）
- [104] 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第11回議事録
- [105] 財務省「社会保障」財政制度等審議会財政制度分科会 資料及び議事録（2022年4月13日）
- [106] 日刊薬業「インフレ前提に『物価連動の薬価を』自民・加藤氏、総裁選出馬で公約」（2024年9月10日）
- [107] 武藤正樹『日本から薬が消える日』ぱる出版（2024年5月）
- [108] 中村洋「医薬品をめぐる諸問題について—薬価改定における調整幅、イノベーション推進、薬剤費マクロ経済スライド—」『社会保険旬報』2865号（2022年8月）
- [109] 日本パブリックアフェアーズ協会「偽造医薬品横行の個人輸入問題と、スイッチ OTC 医薬品推進のための5つの提言」（2023年10月2日）
- [110] 米国研究製薬工業協会(PhRMA)・欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)「2025年度（令和7年度）薬価中間年改定、費用対効果評価 及び義務的な創薬支援基金に関する共同声明」（2024年12月25日）







新薬のイノベーション向上のための創薬エコシステム構築と  
医療保険財政の健全性確保の両立に向けた提言  
～グローバルな創薬エコシステムにおける日本のプレゼンス向上のために～

2025年3月18日 第1刷発行

著者 一般社団法人 日本パブリックアフェアーズ協会

発行者 増田 寛也

発行所 一般社団法人 日本パブリックアフェアーズ協会

(C) JAPAN PUBLIC AFFAIRS ASSOCIATION 2025 Printed in Japan

