

製薬協 政策提言 2019

—イノベーションの追求と社会課題の解決に向けて—

2019年1月24日

日 本 製 薬 工 業 協 会

目次

はじめに.....	3
I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備.....	4
1 予防・先制医療の実現.....	4
①前向きコホート研究の推進.....	4
②疾患別情報統合データベースの構築と利活用促進.....	4
2 健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用.....	4
①大規模リアルワールドデータの構築と二次利用.....	5
②創薬研究用・臨床開発用データベースの構築と二次利用.....	5
3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築.....	5
①創薬基盤技術の高度化.....	6
②データ駆動型創薬に資する企業間データシェアリングの推進.....	6
③産業界主導型連携プロジェクトの構築.....	6
II イノベーションの推進と国民皆保険の持続性の両立を求めて.....	8
1 医薬品の適正使用の推進.....	8
①情報提供活動の適正化.....	8
②薬剤耐性(AMR)問題への取組み.....	8
③ポリファーマシー等への対応.....	9
④高額薬剤の最適使用の推進.....	9
2 医療保険制度における負担と給付の見直し.....	9
①負担の見直し.....	9
②給付の重点化・効率化.....	9
3 保険制度におけるイノベーション(モノ)の適正評価.....	10
①医薬品の多面的評価の必要性.....	10
②イノベーション評価と保険財政の調和.....	11

はじめに

先進国における高齢化の進展や医療財政の悪化、ゲノム医療やAIをはじめとする新たなテクノロジーの台頭、患者や国民の健康及び医療に対するニーズの多様化など、イノベーションを取り巻く環境は大きく変化している。また、政策的な面でも、従来になく薬価抑制策の色濃い薬価制度の抜本改革が今年度より実施に移され、日本市場をめぐる新薬創出企業の投資や経営の環境は文字通り激変してきている。このような環境のなかで、政府の「健康・医療戦略」の見直しが2020年度に予定されており、新しい時代にふさわしい戦略の練り直しが要請されている。

このような機会を捉え、『製薬協 産業ビジョン2025』の実現に向け、いま製薬業界に何が求められ、また、我々は社会に対して何を発信していくべきかを改めて整理したものが本政策提言であり、ここにまとめられた考え方に立って、今後積極的に社会の諸課題と向き合い、また行動していきたいと考えている。

I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備

製薬業界が人々の健康寿命の延伸の実現に貢献するためには、製薬企業が従来取り組んできた疾患治療のための医薬品の創出にとどまらず、予防・先制医療の実現をも見据えた研究開発に取り組む必要がある。そのためには、健康医療ビッグデータや AI、ゲノム医療といった革新的なテクノロジーを取り入れた先端的な研究開発を、産学官の広範なステークホルダーにより構築され海外とも連携したエコシステムにおいて取り組むことが重要である。これらの認識から、「予防・先制医療の実現」、「健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用」、「ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築」の3つの課題について提案を取りまとめた。

1 予防・先制医療の実現

健康寿命の延伸のため、疾患の発症前あるいは発症早期の段階で、発症予測・早期診断し、予防・早期介入することが重要である。そのためには産学官連携の下、疾患の発症・進行メカニズムを解明し、予防・先制医療の実現に資する介入方法を開発する必要がある。特に、前向きコホート研究と疾患コホート研究は、複数の遺伝因子と環境要因が引き起こす疾患の発症予防、進行抑制、重症化予防に資する医学・創薬研究に極めて重要な取り組みであり、他国に先んじて高齢化が進む日本においてはその社会的意義も大きい。

①前向きコホート研究の推進

- ・ 東北メディカル・メガバンクの前向きゲノムコホート研究データの基盤整備・拡充と利活用推進
- ・ 認知症の予防・先制医療実現に向けたコホート研究の推進

②疾患別情報統合データベースの構築と利活用促進

- ・ 国立高度専門医療研究センターが保有する臨床検体及びその患者から新たに採取する検体を用いたゲノム・オミックス解析の実施
- ・ 上記解析データと臨床情報を連結したデータベースの構築と利活用推進

2 健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用

近年、健康医療ビッグデータ及び AI を活用した医薬品開発の取り組みが国内外で急速に進んでいる。日本の強みは、質の高い医療へのアクセス、創薬力の高さ、及

びデータの源泉となる医療機器・診断機器の技術水準の高さにある。個人の良質な医療情報が連結され、それに健康診断情報、行動情報、ゲノム・オミックス情報等が連結されれば、世界的にも貴重な健康医療ビッグデータとなる。その実現には、「質」、「量」、及び「二次利用」に関する課題を産学官連携で解決する必要がある。

健康医療データのプラットフォームとしての大規模リアルワールドデータと共に、創薬研究における標的・マーカー探索や治験の加速化・効率化につながる疾患別データベースの構築が期待される。

①大規模リアルワールドデータの構築と二次利用

- ・ 医療情報の整備・連結・収集を促進するための制度整備(例:インセンティブの付与等)
- ・ 集積される情報の標準化及び構造化など医療情報基盤の整備(医療情報を自動構造化するための AI の開発等)
- ・ 各種医療情報データベースを連結するための医療等分野における識別子の整備
- ・ 企業による研究開発目的の利用を可能とする法制度等の整備(ゲノムデータ・情報を含めた二次利用、データポータビリティの実現等)

②創薬研究用・臨床開発用データベースの構築と二次利用

- ・ 疾患別情報統合データベースの構築と利活用促進(再掲)
- ・ クリニカル・イノベーション・ネットワークの整備・強化(企業ニーズを取り入れたレジストリー構築、中央支援機関によるガバナンス強化等)
- ・ 臨床試験の施設選定等への公的医療情報データベースの活用

3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築

創薬標的の複雑化、科学技術の高度化・多様化、研究開発コストの高騰などにより製薬企業単独で新薬を創出する難易度は高まっている。そのような中、高度な技術・知見を保有するバイオベンチャーやアカデミア等、外部機関とのオープンイノベーションが創薬研究の推進に重要な役割を果たし、産学連携のみならず、非競争領域においては産産連携も活発に行われるようになった。健康・医療戦略の下、AMED が設立され、医療分野研究開発推進計画に基づいた予算配分により、日本の医療分野における研究開発の取り組みが加速しつつある。しかし、今後日本が世界に先駆けて革新的新薬を創出するのみならず、デジタル技術等を活用した予防・早期診断・先制医療など幅広い健康医療ソリューションの創出を実現するためには、国民をはじめ大学や研究機関、関係省庁、AMED や PMDA、IT 企業等の多様なステークホルダ

一が参画し有機的に連携することで、イノベーションが自立的かつ持続的に生み出される環境、いわゆる「エコシステム」を構築する必要がある。

①創薬基盤技術の高度化

- ・ 日本が高度化すべき企業ニーズを踏まえた創薬基盤技術等に関する戦略を立案する産学官ハイレベル対話の場の設置
- ・ 創薬における実装に向け、効果的な産業界とAMEDの資金マッチングの実現例)
 - 新たなモダリティ開発
 - ・ 各社が持つモダリティ研究機能の供出・集約を視野に、AMEDとの連携のもと、アカデミアの優れた基礎研究をもとに日本発の新規モダリティを産学官一体となって開発する
 - クライオ電子顕微鏡を用いたタンパク質構造解析
 - ・ 既存施設に企業から人的リソースを供出する等、不足する専門人材の育成や、蛋白質精製やツール化合物提供等の企業にしか出来ない支援等を通じ、技術開発への貢献を継続しつつ、新たな共用設備の設置を検討する。

②データ駆動型創薬に資する企業間データシェアリングの推進

- ・ 創薬研究の効率化・加速化に向け、製薬企業間(アカデミア等との連携も含む)でデータシェアリングを行うべき分野、領域、枠組み等の議論を開始し、製薬企業間におけるデータシェアリングポリシーを策定
- ・ 持続的な基盤データベースの構築とそれを学習させたAIシステムの開発例)
 - 低分子創薬分野
 - ・ 各社が保有する前臨床データ(薬効、ADMET、物性等)を供出し、統合したデータベースを構築する。それを学習させた自動薬物設計AIシステムを産学連携で開発し、アカデミア創薬にも適用する。

③産業界主導型連携プロジェクトの構築

- ・ 業界の発意に基づく研究開発プロジェクトの機動的な立上げ、グローバルも含めた医療周辺産業との連携、企業保有資産の共有・相互利用、成果の共同管理等による効果的な創薬プロセスを可能とするプラットフォームの構築
 - 各プロジェクトにおいて主幹会社の役割を明確化の上、出口戦略構築を含め民間主導でプロジェクトを推進
 - 大型・長期の創薬基盤構築に関わる案件等については、政府とも協議を行

い、AMED 等、国からの資金も獲得し研究体制を構築

Ⅱ イノベーションの推進と国民皆保険の持続性の両立を求めて

全世代型社会保障への改革に向け、イノベーションによる健康寿命の延伸、労働人口の増加を通じ、社会保障費用の負担軽減への貢献が期待される一方で、医療保険制度においては医薬品は国民の負担に直結する費用の一部であるという側面がある。「イノベーションの推進」と「国民皆保険の持続性」はともに実現すべき課題であり、これらを両立させるための政策推進が求められている。本稿においては、「保険制度における負担と給付の見直し」、「保険制度におけるイノベーション(モノ)の適正評価」と題し、製薬業界としてのスタンスを取りまとめた。これらの政策提言を推進していくために、まずは製薬業界自らの役割を果たしていく姿を示すことが肝要であるとの認識の下、「医薬品の適正使用の推進」に係る現状及び今後に向けた取り組みについても整理した。

1 医薬品の適正使用の推進

①情報提供活動の適正化

医薬品の適正使用については、従来より副作用など安全対策の観点を中心に業界としても様々な取り組みを行ってきたところであるが、昨今、臨床研究に関わる論文不正や不適切な医薬品広告の事例など、社会的に新たな対応が要請されている。このような中、昨年9月には当局より「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドライン」が公表されたところであり、業界としてもこの中で示されている「有効性だけでなく副作用を含む安全性等の必要な情報についても提供し、情報を恣意的に選択しないこと」や「提供する情報は科学的及び客観的な根拠に基づくものであり、その根拠を示すことができる正確な内容であること」等の事項に十分留意した自社のコード並びに社内体制を会員各社が整備するよう今後の活動を進めていく。

また、これに関連して、企業の営業活動や販売促進活動とは一線を画し、医療関係者に対する高度な科学情報の提供やエビデンス創出等を目的とするメディカルアフターズの活動に関する業界としての基本的考え方を取りまとめ、近く公表する予定としている。

②薬剤耐性(AMR)問題への取り組み

抗菌薬の使用に伴って病原体が変化し、特定の種類の抗菌薬・抗生物質が効かなくなる薬剤耐性の問題は、世界的規模で深刻な社会問題となっており、このまま推移すると約30年後には世界で1000万人が死亡するとのレポートも公表されている。この問題は動物薬や魚の餌など分野をまたがり、また、国境を越える問題でもあるこ

とから、国を挙げて取り組むべき深刻な課題である。抗菌薬等を世に送り出す製薬協としてもすでに抗菌薬の適正な使用方法の啓発活動等に積極的に取り組んでいるところであるが、今後更なる取組みの強化をすすめていく。

③ポリファーマシー等への対応

ポリファーマシー(多剤重複投与)やいわゆる残薬問題についても、国民の健康保持及び薬剤費の適正化の観点から、必要な調査啓発活動を進める。

④高額薬剤の最適使用の推進

医療保険財政との両立が問題視されているいわゆる高額薬剤の問題については、保険制度からの財政的アプローチのみならず、医学・薬学的見地からの適正使用の推進も極めて重要であり、このような観点から、現在オプジーボ等8品目について策定されている革新的医薬品に係る最適使用推進ガイドラインについて、今後も行政当局に協力しつつ医療現場への普及啓発に努めていく。

また、製薬企業としてもコンパニオン診断薬の開発など、高額薬剤の最適使用を実現するための研究開発に一層注力していく。

2 医療保険制度における負担と給付の見直し

①負担の見直し

高齢化に伴い医療費が増嵩を続けるなかで、現在、医療保険における現役世代の自己負担は原則3割となっているのに対し、高齢者の負担割合は1割又は2割とバラつきがある。全世代型社会保障が志向されるなかで、医療保険制度を支える負担の面でも、世代間の公平性確保の観点から、所得水準や支払い能力に応じたものとなるよう、見直しが図られる必要があると考える。

また、今後の増大する社会保障費の財源を安定的に確保し国民の生涯不安を解消するためには、本年10月に予定されている消費税の10%への引き上げも含め、将来にわたる医療保険に係る財源の安定的な確保策が早急かつ真剣に検討されるべきである。

②給付の重点化・効率化

一方、医療保険制度の安定的運営の観点からは、負担の見直しに併せて医療給付の重点化・効率化も避けて通れない課題である。終末期医療の在り方のような国民的議論が必要なものから、医療機関における検査データの相互利用や病診の機能分担の徹底による効率化など、医療や医療体制そのものにまつわる制度的課題は多い。

同様に薬剤給付の重点化・効率化についても、今後の議論の進展に応じ業界としても真摯にこれに対応していく必要があるが、その際には、我が国の医療保険制度が、自分の健康は自分で守るとの大原則の上に立ちながら、避けられない国民の健康リスクを共同で負担しあうという趣旨に基づく仕組みであることに十分留意する必要がある。

このような観点から、いわゆる高額薬剤の問題についても、これらの医薬品を待望する患者の方々の深刻かつ重篤な状況を改善し、その肉体的・精神的負担を軽減するという保険本来の目的に照らして、また、イノベーションを積極的に評価し保険医療の質の向上に寄与するという点に鑑みても、基本的にはこれを医療保険制度の枠内で給付していくべきものとする。

3 保険制度におけるイノベーション(モノ)の適正評価

① 医薬品の多面的評価の必要性

従来、医薬品の価格設定は、当該医薬品の有する有効性、安全性、新規性などの評価をもとに行われてきたところであるが、医薬品の有する価値には、このような「医療的価値」に止まらず、回復した患者の就労促進や介護者の負担軽減などによる労働生産性や経済性の向上、政策的に必要な医薬品の開発促進や医学・薬学の発展に寄与する場合などの「社会的価値」がある。これら多面的な価値が総合的に評価され薬価等に適切に反映される仕組みづくりが必要である。

その際、「社会的価値」の性格、内容により、これを反映する方法も、新薬収載時・収載後の各種補正加算として反映する方法や薬価維持のための新薬創出等加算の適用基準として用いる方法、知的財産面、薬事上のインセンティブ付与など各種の対応方法が考えられる。これらの方法論についても、「社会的価値」の更なる具体化作業と合わせて今後検討を進めていきたい。

他方、日本の新薬収載価格の主要外国平均価格に対する比率の平均値は、75～100%の水準にあるとの過去の公表データもあり、新薬創出等加算の導入等により改善傾向にはあるものの、新薬によっては先進国の中で最も安価となる場合もある。このような実情に鑑みても、医薬品の価値評価をより多面的な視点から充実していくことが求められているとも言える。

また、現行の薬価算定システムは、明文化されたルールが存在や算定結果が公表されているという点において優れた仕組みではあるが、複数の調整ルールや特例ルールが組み込まれており、薬価設定の根拠を理解することが困難な場合や医薬品の価値を適切に反映することができない場合があり、必ずしも納得性が高いとはいえない側面がある。

医薬品の価値を薬価に適切に反映し、さらに薬価の算定根拠について国民の納

得性を高めるためには、医薬品が持つ多面的な価値を専門的・客観的に評価する方法・仕組みを構築するなど、薬価算定の透明性をさらに高めていくことが必要であると考え。

②イノベーション評価と保険財政の調和

一方、新しいテクノロジーを駆使して生み出される新薬の薬価及びその薬剤費の高騰が保険財政を過度に圧迫しその運営を困難ならしめる事態も避けなければならない。保険制度の下でイノベーションを適正に評価していくことはもちろん極めて重要なことであるが、他方、患者アクセスの確保、国民負担の軽減等の観点から、場合によっては一定の条件下で医薬品の価格の適正化を図るなどの措置を採ることも、保険制度維持のための選択肢の一つとして一概に否定することはできない。

このような観点から、薬価収載時の前提条件の変化に伴う個別医薬品の市場拡大再算定等の措置を機動的に発動していくとする現在のルールはそれなりに理解しうるものであるが、その前提としては、我が国保険制度の誇るべき特色である「薬事承認された新薬は速やかに保険収載する」という基本ルールが今後とも維持尊重されていくことがとりわけ重要であることを改めて強調しておきたい。