

RESEARCH PAPER SERIES

国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度に向けて

吉田 晃子
(医薬産業政策研究所 主任研究員)

リサーチペーパー・シリーズ
No. 83
(2024年3月)

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所

本リサーチペーパーは研究上の討論のために配布するものであり、著者の承諾なしに転載、複写・複製することを禁ずる。

本リサーチペーパーに記された意見や考えは著者の個人的なものであり、日本製薬工業協会及び医薬産業政策研究所の公式な見解ではない。

内容照会先：

日本製薬工業協会 医薬産業政策研究所

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町 2-3-11 日本橋ライフサイエンスビルディング 7F

TEL: 03-5200-2681; FAX: 03-5200-2684

E-mail: opir-sp@jpma.or.jp

URL: <https://www.jpma.or.jp/opir/>

目次

目次	3
要旨	4
はじめに	6
1 章 あるべき姿	7
2 章 現状と問題認識	9
2.1 薬価算定ルール of 現状と問題認識	9
2.1.1 薬価算定方式について	9
2.1.2 NME の薬価算定の現状分析	13
2.1.3 小括	20
2.2 薬価算定プロセス of 現状と問題認識	21
2.2.1 薬価算定プロセス of 概要	21
2.2.2 60 日ルール of 背景と導入前後 of 変化、近年 of 状況	30
2.2.3 小括	34
2.3 価値エビデンス創出 of 現状と問題認識	35
2.3.1 PRO の最新動向-臨床試験登録データベースを用いた調査・分析-	35
2.3.2 フランス HAS における患者 of 声 of 収集について	42
2.3.3 小括	45
2.4 医薬品 of 価値等へ of 国民 of 理解と PPI の現状と問題認識	46
2.4.1 国民 of 医薬品 of 価格や制度へ of 意識や興味関心、重視する医薬品 of 価値	46
2.4.2 PPI の最新動向	67
2.4.3 英国 NICE における患者・市民 of 参画について	73
2.4.4 小括	76
3 章 解決 of 方向性	77
3.1.1 価値説明方式	78
3.1.2 客観性や透明性が高く、かつ患者・市民と共に意思決定するプロセス	79
おわりに	81
主な参考文献	82

要旨

国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度とはどのようなものか。医薬品の多様な価値の評価により価値に基づく値付けがなされる。そして、研究開発が促進しその水準がさらに高まることで、より幅広い価値エビデンスが創出される。創出された多様な価値が国民に届き続ける好循環となることこそ、本来国民に納得をもたらすものである。

このような考えの下、本稿では、国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿は革新的な新薬の多様な価値に基づく値付けがなされることと、価値評価への患者・市民の参画（PPI¹）がなされることであると考へ、革新的新薬の薬価算定ルールおよび薬価算定プロセス、価値エビデンスの創出、医薬品の価値等への国民の理解と PPI の 4 点について、現状や問題認識を述べそれらの解決に向けた方向性を提言する。

まず、薬価算定ルールでは、NME²の約3割を占める原価計算方式において、構造上個々の新薬の価値を薬価に反映しにくい性質があり、わが国の算定薬価は外国価格に比較し低い傾向にあること、有用性等の加算の程度（加算率）が類似薬効方式に比較し低い傾向にあることを示す。類似薬効比較方式、原価計算方式いずれにおいても、審査報告書ベースの有用性の評価ゆえに有効性や安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば、患者や家族の生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。これらの現状より現行の薬価算定ルールでは、革新的な新薬の多様な価値が適切に評価されていないことを問題認識として示す。

薬価算定プロセスにおいて、限られた会議への極めて限られた患者の参画となっており患者・市民参画の不足があること、患者を含めた公平な議論と合意決定がなされる仕組みではなく合意形成のゆがみがあること、医薬品にどのような価値があるか、どのような理由、議論がなされて値付けがなされたか国民にわかりやすい情報公開となっておらず透明性の欠如があることを示す。これらの現状より、現行の薬価算定プロセスでは患者・市民の参画（PPI）ができておらず透明性の欠如もあり、国民の納得性には至っていないことを問題認識として示す。

わが国の患者視点の医薬品の価値エビデンス創出は、欧米に比べて少なく限られていること、限られた価値エビデンスの中には薬価収載までに QOL³の改善等を示した事例があるものの現行の薬価制度では有用性系加算にはつながりにくいことを示す。また、フランス（HAS⁴）では医薬品の評価の土壌に生活の質（QOL）を載せることが一般的であり、患者や家族の声が公的に収集され価値評価の議論の俎上に挙げられていることが示唆される。これらの現状より現行の価値エビデンス創出では、患者や家族の声を生かした最大限の価値エビデンス創出ができていないことを問題認識として示す。

医薬品の価格や制度を含む価値への国民の興味関心は、低くない一方で非常に高い人は一部に限られている等理解の不足があること、一般に健康な若年層を中心に医療への関りが少ないと意識や興味関心が高まりにくいが高まる起点の一つには「理解」の深まりがあり健康な人も含めた理解の重要性が挙げられること、そのためにわかりやすく伝えることの重要性を示す。また、医薬品の価値においては、特に社会に波及する多様な価値について、いまだ十分に知られていないことを示す。

PPI においてはわが国でも近年盛んになりつつある最新動向として、製薬企業や患者発等のこれまで

¹ Patient and Public Involvement の略、患者・市民の参画のこと

² New molecular entity の略、新有効成分含有新医薬品を指す

³ Quality of life の略、「生活の質」を示す概念

⁴ Haute Autorité de Santé の略、高等保健機構

なかった新しい取り組みが多く実行されており、認知向上、浸透が加速していることを示す。一方で、一社一団体の力だけでは実現が難しい場合もあること等の課題が見えてきており、多くのステークホルダーが連携するに至っていないことを示す。また、英国 NICE⁵においては国民の納得性を高める視点で国民への周知はもとより国外への発信、研修体制の充実、客観性、透明性への配慮、参加者がやりがいを感じられるようよりより良い手法プロセスを一緒に考え常に改良していくなど、まさに、患者・市民をパートナーと考えた施策が有用な事例として示唆される。これらの現状より医薬品の多様な価値等を広く国民にわかりやすく伝え届ける必要があること、理解に向けて患者、患者団体、医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダーの連携、協働が十分でないことを問題認識として示す。

このような現状、問題認識を踏まえ国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿、多様な価値に基づく値付けと価値評価への患者・市民の参画（PPI）に向け、解決の方向性として新たに【価値説明方式】と【客観性や透明性が高く、かつ患者・市民と共に意思決定するプロセス】を提言する。

⁵ National Institute for Health and Clinical Excellence の略、英国国立医療技術評価機構

はじめに

わが国では国民皆保険制度⁶により、国民は公的医療保険で保障されている。おかげで私たちは公平な医療を受けることができ、世界最高レベルの平均寿命⁷と保健医療水準を実現している。この保険医療に使用できる医薬品とその価格を定める制度が、薬価制度である。

革新的な新薬の研究開発には莫大な費用がかかるが、薬価による適切な価値評価、つまり値付けがなされることで新薬の研究開発投資が促進する。その結果、国民に新たな治療の選択肢や生活の質向上といった恩恵がもたらされ、価値が国民に届き続ける好循環となるのである。

しかしながら昨今、革新的な新薬がわが国の国民に届きにくくなるドラッグラグやロスが指摘、問題視されており、その要因の一つには薬価による適切な価値評価がなされていないことが挙げられている。価値の評価が不十分なことで投資に問題が生じる値付けとなり、次なる研究開発投資が損なわれれば価値が届き続ける好循環が断ち切れ、国民に医薬品の価値が届かなくなってしまう。

医薬品の多様な価値の評価により価値に基づく値付けがなされる。そして、研究開発が促進しその水準がさらに高まることでより幅広い価値エビデンスが創出される。創出された多様な価値が国民に届き続ける好循環となることこそ、本来国民に納得をもたらすものである。(図1)

本稿では、メリハリのある財源配分のもとイノベーションの価値を適切に評価する観点で薬価及び薬価制度については革新的な新薬の収載時薬価と収載までのプロセスに問題意識を持ち、ここに焦点を当てて述べる。1章ではあるべき姿について、続いて2章では革新的新薬の薬価算定ルールおよび薬価算定プロセス、価値エビデンスの創出、医薬品の価値等への国民の理解とPPIの4点について現状や問題認識を述べ、3章でそれらの解決に向けた方向性を提言する。

図1 医薬品の多様な価値が国民に届き続ける好循環



出所：医薬産業政策研究所にて作成

⁶ 1958年に新しい「国民健康保険法」が制定され、1961年に現在の「国民皆保険」が完成。

⁷ 令和4年簡易生命表によると、男の平均寿命は81.05年、女の平均寿命は87.09年。

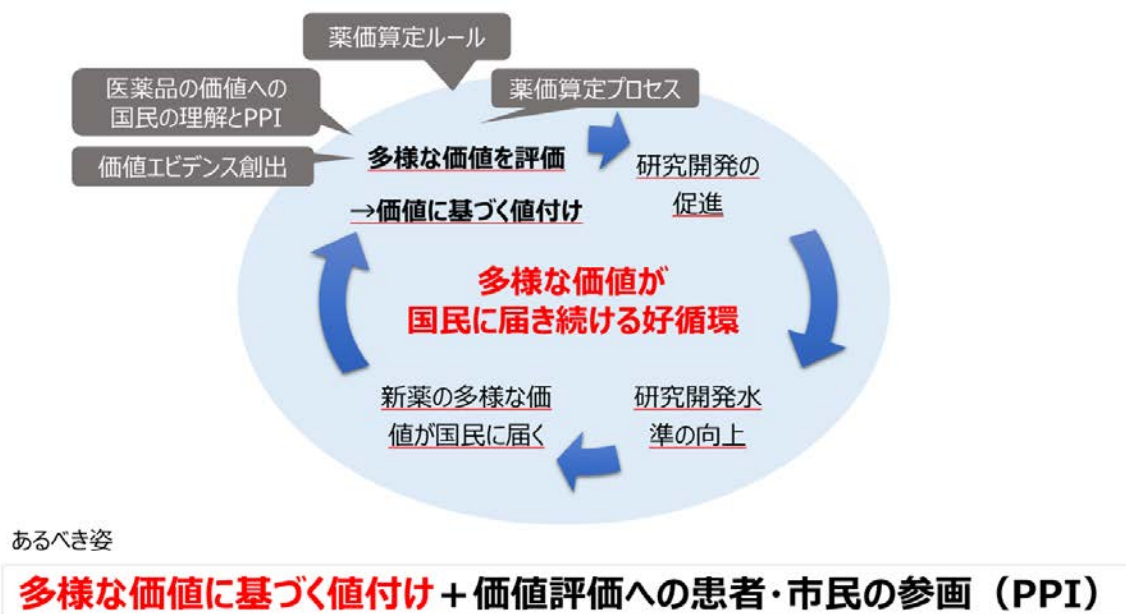
1章 あるべき姿

医薬品の多様な価値の評価により価値に基づく値付けがなされる。そして研究開発が促進しその水準がさらに高まることで、より幅広い価値エビデンスが創出される。創出された多様な価値が国民に届き続ける好循環となることこそ、本来国民に納得をもたらすものである。

しかしながら昨今、革新的な新薬がわが国の国民に届きにくくなるドラッグラグやロスが指摘、問題視されており、その要因の一つには薬価による適切な価値評価がなされていないことが挙げられている。価値の評価が不十分なことで投資に問題が生じる値付けとなり、次なる研究開発投資が損なわれれば、価値が届き続ける好循環が断ち切れ国民に医薬品の価値が届かなくなってしまう。

こうした考えより、国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿は革新的な新薬の多様な価値に基づく値付けがなされることと、価値評価への患者・市民の参画（PPI）がなされることであると考える。（図2）

図2 国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿



対象：革新的新薬の収載時薬価と収載までのプロセス

出所：医薬産業政策研究所にて作成

多様な価値に基づく値付け

わが国では、革新的な新薬の価値評価は有用性加算等の補正加算という形で価値が公に認められ、価格に反映されることが一般的である。しかしながら、加算適用の可否については薬事承認の可否を判断するために品質、有効性及び安全性を確認・評価した審査報告書で評価された試験成績をもとに判断をする。つまり、有効性及び安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。医薬品には多様な価値がありながら、価値の一部しか評価がなされない仕組みとなっている。変わりゆく価値や患者にしかわからない価値を含めた、医薬品の多様な価値が評価される仕組みが必要である。医薬品の多様な価値に基づく値付けがなされることで、薬価による適切な価値評価が実現するものと認識する。

価値評価への患者・市民の参画（PPI）

欧米には遅れたものの近年わが国でも PPI が盛んになりつつある。例えば、医薬品の研究や開発段階におけるレイサマリー⁸の標準化に向けた動き、研究や開発段階だけでなく製薬各社を中心に加速する様々な PPI に関するこれまでなかったような新しい取り組みがある。これらは、医薬品の研究開発を促進しその水準をさらに高めること、そしてより幅広い価値エビデンスを創出すること等、医薬品のライフサイクルにおいて幅広く貢献している。わが国においても患者・市民は、医薬品のライフサイクル全において大切なパートナーとなりつつある。

昨今、患者視点の価値評価や当事者の意見を広く吸い上げられる評価体制の要望等⁹も挙げられている。しかしながら医薬品の価値やその評価への参画実態は、乏しい実態がある。欧州では PPI が様々な面で拡大しているが、その理由は患者や家族の病気や治療に関する実体験はもとより参画が異なる視点をもたらしたり、これまで気が付かなかった問題を発見することにつながっているためである¹⁰。患者や家族、市民は、いずれも医薬品の価値の受益者であり当事者である。国民が納得する観点では、価値の理解はもとより価値や評価への患者・市民の参画が重要となる。

⁸ 試験の内容や結果を誰もが読んで理解できるようにまとめたものをレイサマリー（Lay Summary）と呼ぶ。同じものをレイパーソンサマリー（Layperson Summary）やブレインランゲージサマリー（Plain Language Summary : PLS）と呼ぶこともある。

⁹ 患者目線で革新的医療政策実現を目指すパートナーシップの「患者・市民の医療政策への参画に関する提言」等

¹⁰ European Medicines Agency, ” The Added Value of Patient Engagement in Early Dialogue at EMA: Scientific Advice as a Case Study”

2章 現状と問題認識

2.1 薬価算定ルール of 現状と問題認識

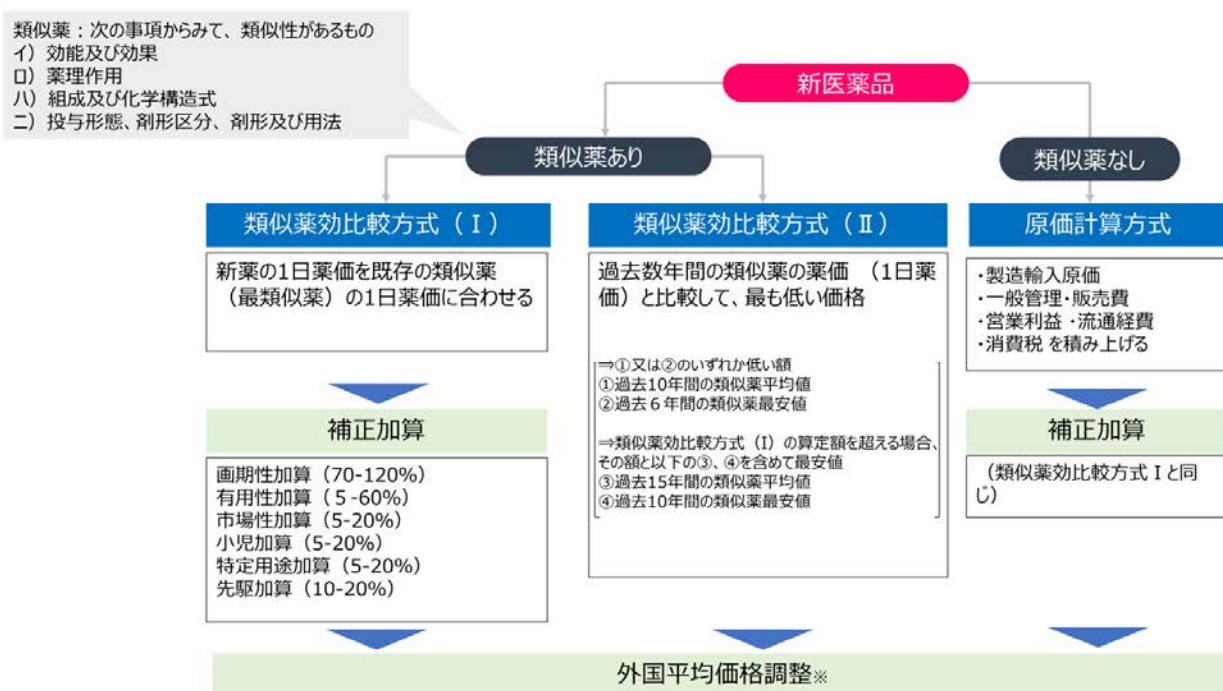
2.1.1 薬価算定方式について

薬価を決める薬価算定ルールは2年に1度薬価制度改革によって改定されるが、現在の薬価算定方式及び薬価算定の概要、NMEの薬価算定の分析結果を示し、革新的新薬の薬価算定における価値の評価実態について現状と問題認識を述べる。

2.1.1.1 薬価算定の概要

新薬の薬価算定の概要は図3に示す通りである。類似薬がある場合は、類似薬効比較方式が基本となる。効能効果や薬理作用、組成や投与形態等が最も似ている最類似薬を基準に一日薬価を合わせる。似ている薬は同じような価格にするという考え方で、ある意味わが国の既存の医薬品の価値に紐づく値付けである。そして、諸外国の値決めの方と基本的には同じである。

図3 薬価算定の概要



※類似薬効比較方式 (I) のうち薬理作用類似薬がない場合又は原価計算方式に限る
 出所：中医協で示された「新医薬品の薬価算定方式 (全体像)」を基に医薬産業政策研究所にて作成

一方で、類似薬がない場合は原価計算方式となる。原材料費、製造経費、研究開発費等を積み上げることで薬価を算定する。ただし、原価計算という言葉が一般的に指すような製品を製造する際にかかる原価を算出しただけではなく、労務費単価、一般管理販売費率、営業利益率、流通経費率といった値は

決められた係数（1年固定）¹¹となっており係数処理された額が上限値として設定されている。実際には製薬企業が提出した原価計算資料に対し厚生労働省による査定がなされ、薬価が決まる。査定状況は当該企業にも明確にならない場合もあり、広く一般に説明されることはない。既存の類似薬がなく似ている薬と同じような価格にすることが困難な場合に用いる原価計算方式においては、用いる係数が固定であるため個々の新薬の価値を薬価に反映しにくく、また企業にとっては研究、開発段階や上市に先立って薬価を想定しても実際には想定と大きく異なる結果となることもあり、上市価格を予測することが難しい面がある。

2.1.1.2 加算による有用性の評価

新薬の有用性は、算定薬価に一定の加算を行うことによって評価している。加算適用の可否については主に薬事承認の審査過程で評価がなされている臨床試験成績（具体的には審査報告書で評価された試験成績）をもとに判断することで、短い期間（原則 60 日）での評価を可能としてきている。しかし、審査報告書は薬事承認の可否を判断するために品質、有効性及び安全性を確認・評価したものであるため、それらの目的から必要ではないデータは評価されていない。よって、そもそも加算として評価される医薬品の価値には限りがあると言える。

加算には画期性加算、有用性加算が設定され、各々の要件及び加算率の幅が定められている。平成 26 年度以降は、厚生労働科学特別研究事業の研究成果¹²を活用し加算率を定量化している。これは、各加算の適用のための充足要件に関して新薬の有用性をいくつかの因子に分解し、それぞれの充足に係る比重を勘案して各因子の充足度を積算することにより加算率（%）を定量的に算出するものである。しかしながら同研究においては、平成 20 年度以降に収載され有用性加算等が適用された品目について整理分析が行われ加算率の定量化が検討された。つまり、過去の実績と整合するように定量的な評価体系が検討されており、当時評価されていなかった有用性に係る観点については評価体系に組み込まれていないこと、また、各加算の要件の充足性に応じて適用される加算が決定される仕組みのため加算率の実態として各加算の加算率に偏りが生じていること等が課題として挙げられており、2024 年度より表 1 のように改定がなされることとなっている。

加算による有用性の評価は、2024 年度以降新たな評価体系による運用と加算率の見直しが進むことと期待がなされるが、主に薬事承認の審査過程で評価がなされている臨床試験成績をもとに判断することには変わりはない。有効性や安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば患者や家族の生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。

¹¹ 令和 5 年 5 月に中医協で示された新薬算定における係数については、平均労務費単価は 3,636 円、平均一般管理販売費率は 50.5%、平均営業利益率は 16.6%、平均流通経費率は 7.1%となっている。

¹² 中央社会保険医療協議会 総会（第 276 回）、「薬価専門部会からの報告について」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-Hokenkyoku-Iryouka/0000044424.pdf>（参照：2024/1/31）

表 1 有用性系加算の定量的評価の評価項目の見直し（2024 年度変更点は下線赤字）

① 臨床上有用な新規の作用機序（該当する項目ポイントの合計により算出。a、b はいずれか1つ）	ポイント
a. 薬理作用発現のための薬剤の作用点（部位）が既収載品目と大きく異なる	2p
b. 薬理作用発現のための薬剤の標的分子（酵素、受容体など）が既収載品目と異なる	1p
c. a 又は b を満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	*1
d. <u>a 又は b を満たす場合であって、創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上の有用性が示される</u>	*1
e. <u>a 又は b を満たす場合であって、同じ疾患領域において、新規の作用機序の新薬が長期間収載されていない</u>	*1
f. a 又は b を満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床に著しく有用であると薬価算定組織が認める	*1
②-1 高い有効性又は安全性の内容（該当する項目ポイントの合計）	
a. 臨床で重要な有効性指標において類似薬等に比した高い有効性が示される	1p
b. 重篤な副作用の発現状況など、臨床で重要な安全性指標において類似薬等に比した高い安全性が示される	1p
c. a 又は b を満たす場合であって、高い有効性又は安全性が臨床に著しく有用であると薬価算定組織が認める	*1
②-2 高い有効性・安全性の示し方（いずれか 1 つ）	
a. ランダム化比較臨床試験による（新規配合剤で単剤に対する高い有効性の場合には 1p）	2p
b. その他、 <u>患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であって、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による</u>	1p
③ 対象疾病の治療方法の改善（該当する項目ポイントの合計により算出）	
a. 既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる	1p
b. 対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる	1p
c. 既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い（製剤工夫によるものを除く）	1p
d. 既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される	1p
e. <u>作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される</u>	1p
f. <u>患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比した改善が示される</u>	1p
g. 上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める	1p
h. a～g のいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	*1
④ 製剤工夫による高い医療上の有用性（該当する項目ポイントの合計により算出）	
a. 投与時の侵襲性が著しく軽減される	1p
b. 投与の簡便性が著しく向上する	1p
c. 特に安定した血中薬物濃度が得られる	1p
d. 上記の他、特に高い医療上の有用性があると薬価算定組織が認める	1p

※ 減算規定あり

出所：令和 6 年度薬価制度改革の骨子（案）を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.1.1.3 原価計算方式に関する透明性の指摘

原価計算方式における透明性を高める観点の指摘は、2020 年 11 月の政府の行政改革推進本部¹³が実施した「秋の行政事業レビュー」をはじめ長らく多方面からなされている。2018 年度薬価制度改革時には、中央社会保険医療協議会（以降、中医協）においても、製造原価に関する情報を積極的に開示するよう求める声が高まり、既存治療に比べて有用性等が高い場合製造原価に関する資料の開示度に応じて補正加算を調整する仕組みを導入した。さらに、2022 年度薬価制度改革で原価計算方式による算定で製品総原価の開示度が 50%未満ならば加算係数ゼロ（加算ゼロ）とするルールが導入された。医薬品の開発やサプライチェーンが複雑化しており、製品化するまでの工程の一部を外部委託するケースも多く委託先の経費を開示できないことから、製造原価の開示度が下がり加算係数がゼロ（加算がゼロ）になるケースが続出¹⁴しており医薬品の価値が認められても薬価による価値評価がなされないケースも生じるとい実態がある。

2024 年度薬価制度改革に向けては、薬価算定組織からは類似薬効比較方式による算定を一層進めるために比較薬の選定をこれまでより柔軟に行うことの検討について意見¹⁵も出されている。

¹³ 国民本位で、時代に即した合理的かつ効率的な行政を実現するため、行政改革を政府一体となって、総合的かつ積極的に推進することを目的として、平成 25 年 1 月 29 日、内閣に総理を本部長とし、全閣僚が参加する行政改革推進本部を設置。

¹⁴ ルール導入（2022 年 4 月）後 2023 年末時点までに、開示度が 50%以上となり「加算ゼロ」を免れた品目は 2 成分（不妊治療のための薬価収載品を除く）であった。

¹⁵ 中医協 薬価専門部会（第 207 回）、「薬価算定組織からの意見について」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001137623.pdf>（参照：2024/1/31）

2.1.1.4 外国平均価格調整

公正な市場競争を確保する観点から、原価計算方式又は薬理作用類似薬のない品目における類似薬効比較方式において、外国価格との乖離が大きい場合（外国平均価格の1.25倍以上又は0.75倍以下）に価格の調整を行う。

これまで度重なるルールの変更が行われており、主だった変更内容を表2に記載する。ルールの厳格化傾向が続いており、基本的には外国価格を基準に薬価が上がりにくくまた下がりやすい傾向となっている。また、2018年度にルール上参照可能な米国リストを変更¹⁶したため参照できるリスト掲載数の減少や低い参照価格の参照により、外国平均価格調整の適用になりにくくなっている。

表2 外国平均価格調整に関わるルール変遷の概要

薬価制度改革	主な改定事項
2012年度	• 引き上げの際に行っていた最高価格の調整を、引き下げの際にも適用
2014年度	• 最高価格を除外する要件を、最低価格の5倍から3倍に変更 • 引き下げの要件を外国平均価格の2分の3から4分の5に変更
2016年度	• 開発要請・公募された品目のうち、下記の要件を全て満たすものについては、外国平均価格調整の対象外とする ①直近の外国での承認日が日本での承認日から10年より前 ②外国平均価格が算定薬価の3分の1未満 ただし、承認申請にあたり製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものは除く
2018年度	• 米国参照価格リストの変更（メーカー希望小売価格 → 公的制度の価格リスト）
2023年度	• 収載後の外国平均価格調整の適用 最近の欧米における新薬の品目数の増加等の状況変化を踏まえ、令和5年度薬価改定において適用する
2024年度	• 収載後の外国平均価格調整の適用の拡大

出所：医薬産業政策研究所にて作成

2.1.1.5 小括：薬価算定の概要

薬価算定方式を問わず審査報告書ベースの有用性の評価ゆえに、加算として評価される医薬品の価値は必然的に限りがある。有効性や安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば患者や家族の生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。

わが国において既存の類似薬がなく似ている薬と同じような価格にすることが困難な場合に用いる原価計算方式には、構造上個々の新薬の価値を薬価に反映しにくい性質がある。加えて、原価計算方式に関する透明性の指摘と制度見直しによって、加算による価値評価を困難にする事例が相次いでいる。また、企業にとっては研究、開発段階や上市に先立って薬価を想定しても実際には想定と大きく異なる結果となることもあり上市価格を予見することが難しい面もある。

外国価格との乖離が大きい場合に価格の調整を行う外国平均価格調整も革新的な新薬の値付けに影響する要素であるが、度重なるルールの改変により、参照できるリスト掲載数の減少や参照価格の低下がなされ適用されにくくなっている。

¹⁶ 米国参照価格を RED BOOK から ASP 及び NADAC に変更した。当時の中医協資料によると価格比は 0.77、掲載品目数は 55 品目から 19 品目（34.5%）になることが示されている。

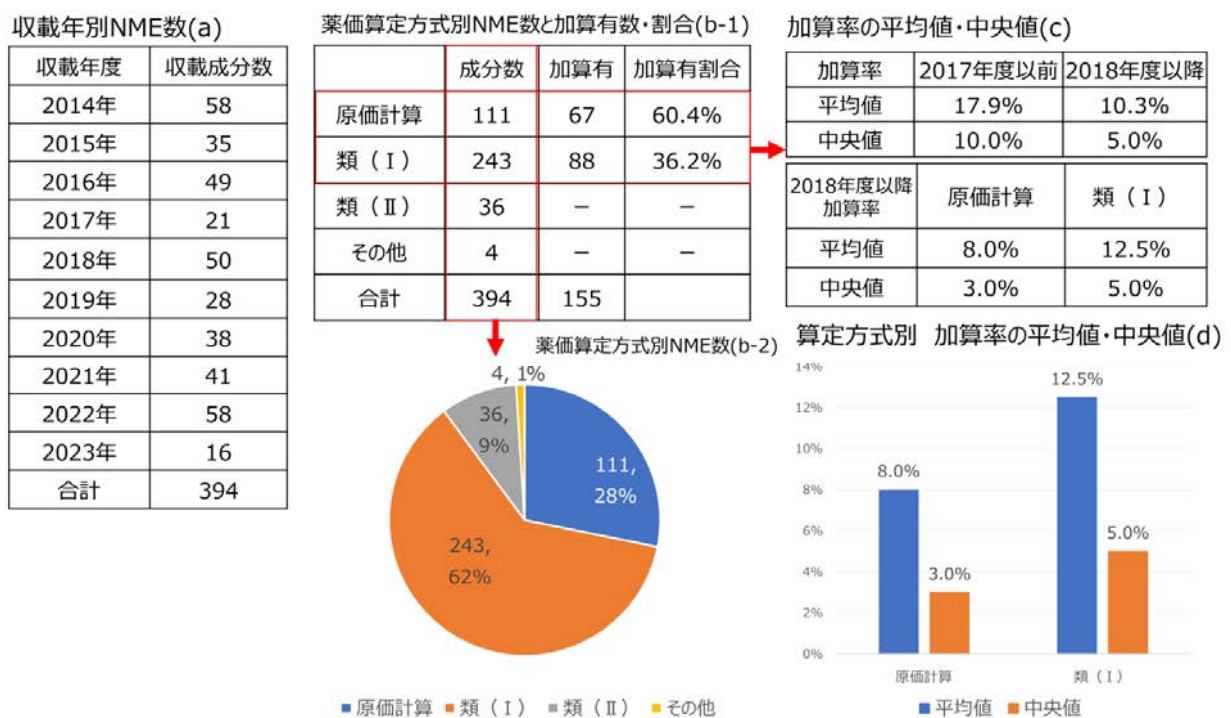
2.1.2 NME の薬価算定の現状分析

2.1.2.1 調査方法

2014年4月から2023年8月までに薬価収載された新有効成分含有新医薬品を対象とし、薬価収載の銘柄別に1成分とカウントした全394成分の調査・分析を実施した。薬事承認、収載時薬価に関する情報（薬価算定方式、補正加算、外国平均価格調整、不服申し立て等）について、審査報告書、中医協資料等からデータを取得した。

なお、薬価制度改革は2年に1度行われており、その都度多くの薬価算定ルールの変更がなされる。そのため一概に比較できない点があることは事前に提示しておく。

図表1 NME の薬価算定方式及び加算状況



注1：2014年4月～2023年8月収載のNMEを対象。薬価収載の銘柄別で、1成分とカウントしている。

注2：加算は有用性系の加算に加え、市場性加算や小児加算等を含む。

出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.1.2.2 NME の薬価算定方式及び加算状況

NMEの薬価算定方式及び加算状況については図表1に示す。NMEの薬価算定方式では類(I)が243(62%)と最も高い割合を示し、次いで原価計算方式が111(28%)、類(II)が36(9%)、その他が4(1%)となっていた。

続いて有用性系の加算に加え、市場性加算や小児加算等を含む何らかの加算が適用されたのは、原価計算方式で67(60%)、類(I)で88(36%)となっており、原価計算方式の方が加算の適用割合が高かった。

次に、何らかの加算が適用されたものの加算率を、薬価制度の抜本改革がなされた2018年度前後(2014年度～2017年度(163成分)と2018年度～2023年8月(231成分))で比較してみると、2018年度以前では平均値17.9%、中央値10.0%であったのに対し、2018年度以降では平均値12.0%、中央値

5.0%と低下していた。また、2018年度以降の薬価算定方式別の内訳では、類（I）では平均値 12.0%、中央値 5%であったのに対し原価計算方式では平均値 8.0%、中央値 3.0%と原価計算方式の加算率の方が低かった。

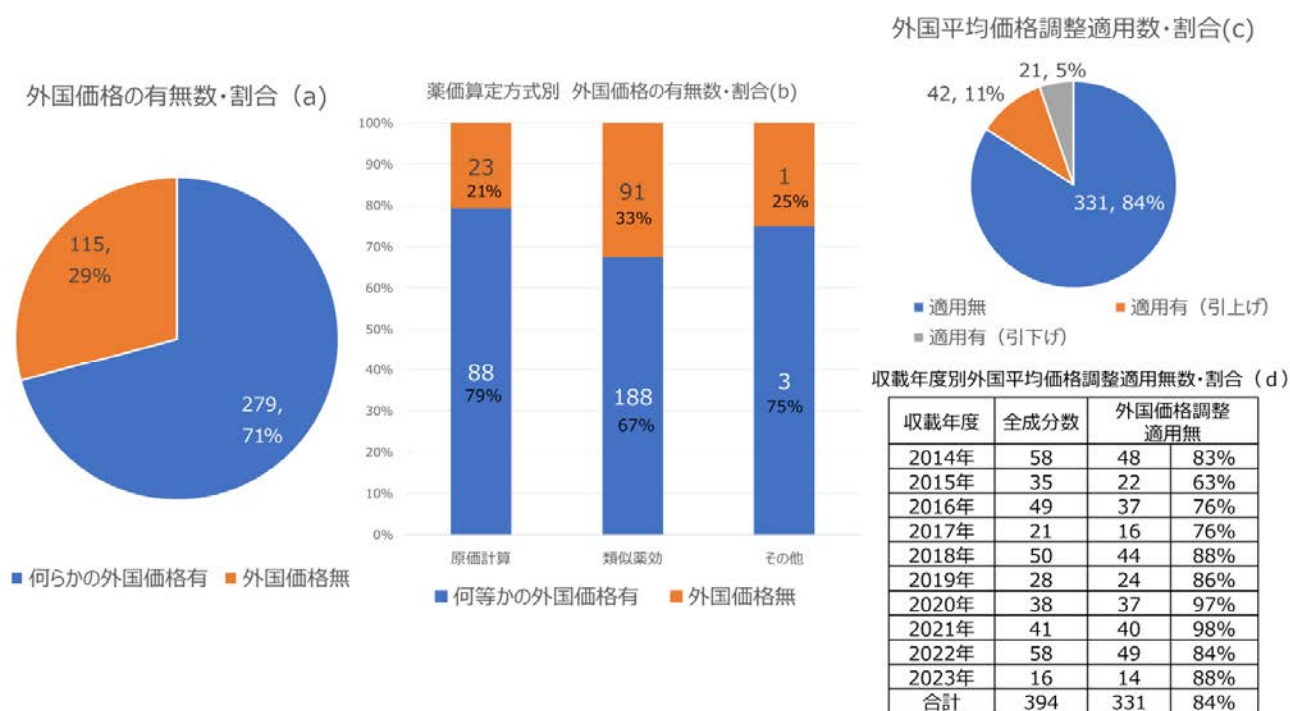
2.1.2.3 NME の薬価収載時の外国価格の状況

先に示した通り、外国平均価格調整のルールは度々変更が行われており 2018 年度にはルール上参照可能な米国リストが変更されている。中医協資料には参照されないリスト価格¹⁷であっても参考として記載されていることから、それらの記載を含めて薬価収載時に何らかの外国価格があるものについてみている。(図表 2)

NME の薬価収載時に何らかの外国価格があるものが、全体の約 7 割を占めていた。すなわち、少なくとも 7 割は日本先行ではなく、先に欧米での値付けがあることになる。

薬価算定方式ごとにその内訳をみると、類似薬効比較方式で算定されたものではその 7 割弱が、原価計算方式で算定されたものではその約 8 割が、何らかの外国価格がある状態で日本の薬価収載をしていた。一方で、外国価格調整の適用割合は全体の 16%と低く 2018 年度以降では約 9 割（平均値）が適用されていないということがわかった。

図表 2 NME の薬価収載時の外国価格の状況



注 1：2014年4月～2023年8月収載のNMEを対象。薬価収載の銘柄別で、1成分とカウントしている。

出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

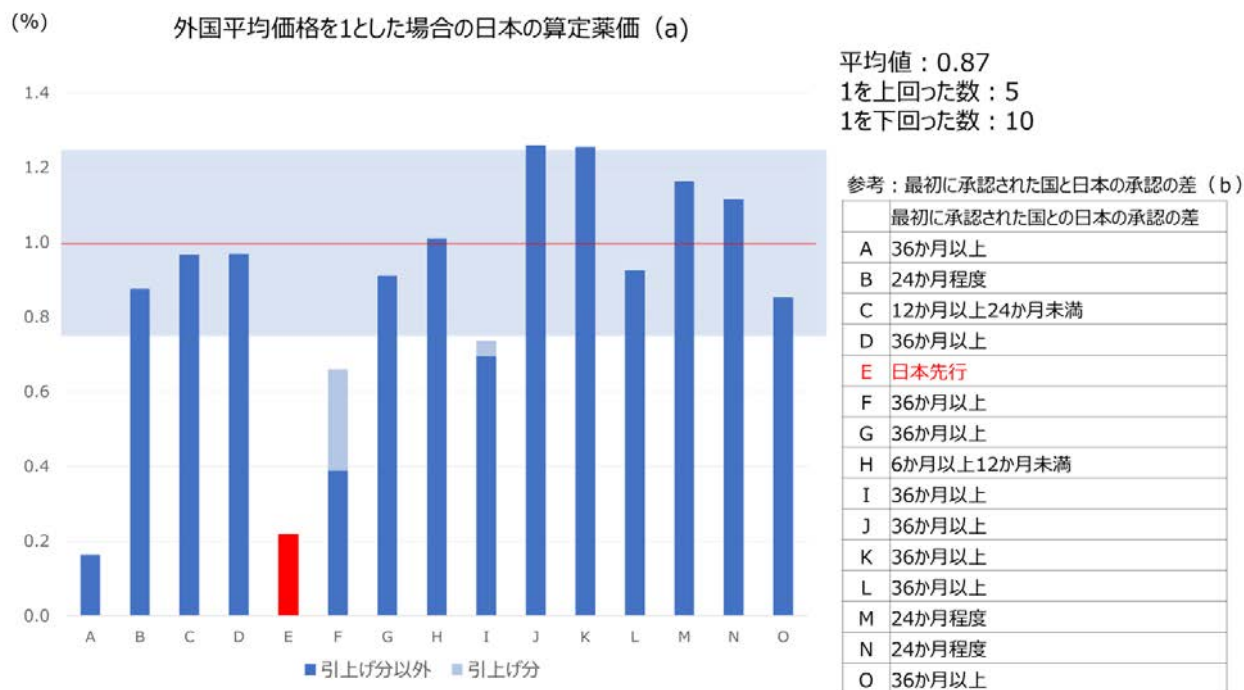
¹⁷ 現在の参照価格は、米国が ASP 及び NADAC、独国が Rote Liste、仏国が VIDAL、英国が MIMS となっており、それ以外のリストの場合、参考として記載される場合もあるが、参照されない。

2.1.2.4 原価計算方式で算定された革新的な新薬の算定薬価と外国価格との比

次に、原価計算方式で算定された革新的な新薬の算定薬価と外国価格との比をみていく。外国平均価格調整のルールは度々変更されていることから、直近の3年程の2021年4月～2023年8月収載のNME（全115成分）を対象とした。薬価算定方式の内訳は、原価計算方式が38（33%）、類（Ⅰ）が72（63%）、類（Ⅱ）が5（4%）であった。原価計算方式で算定され何らかの加算が適用されたもの（29、25%）を革新的な新薬と定義し、中医協資料において参照可能な外国価格の記載が1以上あった15成分について算定薬価と外国価格との比を図表3に示している。ただし、使用実態が異なるもしくは参照リストでない場合の参考価格として記載があったもの、不妊治療のための薬価収載品を除いている。外国価格のある原価計算算定品目では、革新性の高いNMEであっても外国平均価格の87%（平均値）の薬価となっている。1を上回った数は5、1を下回った数は10と下回ったものが多かった。なお、外国平均価格調整による引上げがFとIで実施されており、引き上げ分は別色にて示している。また、表には示していないがJとKでは外国平均価格調整による引下げが行われており、Jは算定薬価の2%相当、Kは算定薬価の1%相当が引き下げられていた。

また、外国平均価格調整内（0.75～1.25）におさまっている品目が11と多かったことから、日本の薬価算定（値付け）において算定時に外国価格がある場合には、直接又は間接に外国価格を反映した値付けとなっている可能性がある。他方で日本で最初に承認されたり、引上げようにも外国価格が1か国しかないなど参照できない場合、日本の薬価が外国価格を大きく下回る品目がある。この点は、以下で更に分析する。

図表3 原価計算方式で算定された革新的な新薬の算定薬価と外国価格との比



注1：2021年4月～2023年8月収載のNMEで、原価計算方式で何らかの加算が適用され、中医協資料に参照可能な外国価格の記載が1以上あった品目を対象。使用実態が異なる、もしくは参照リストでない場合の参考価格として記載があったもの、不妊治療のための薬価収載品を除いた15成分。

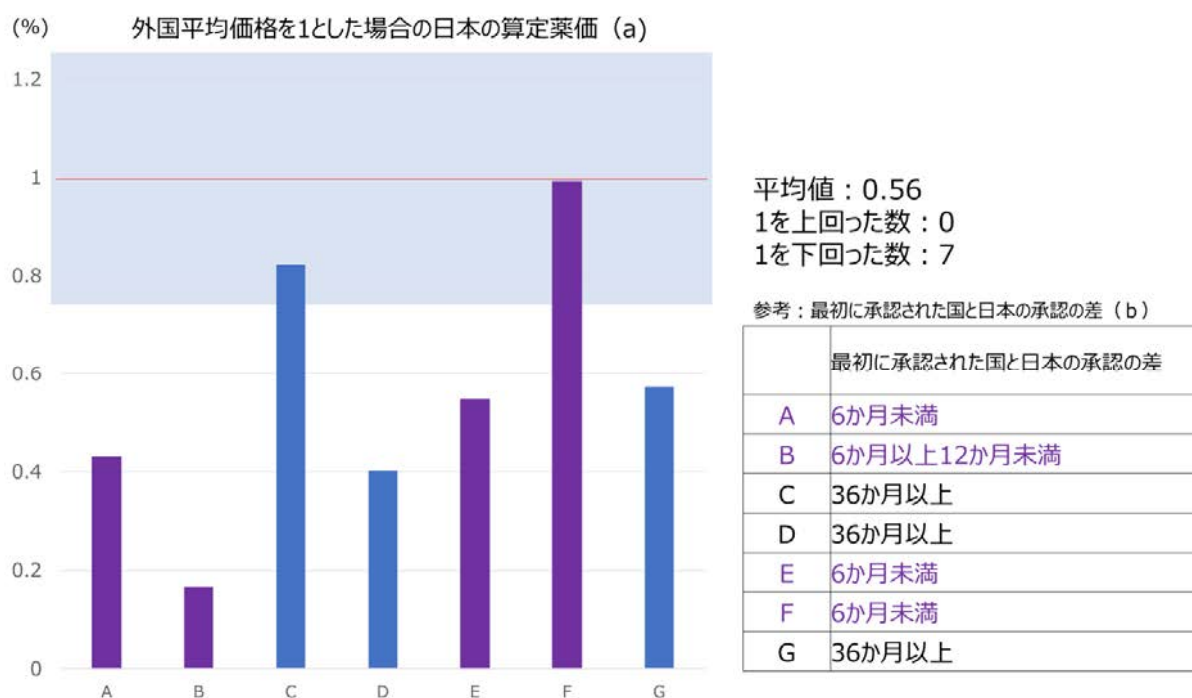
注2：15成分をA～Oとして記載

出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.1.2.5 原価計算方式で算定された革新的な新薬の外国価格との比（外国価格がルール上参照可能なリストでない場合）

外国価格がルール上参照可能なリスト（米国がASP及びNADAC、独国がRote Liste、仏国がVIDAL、英国がMIMS）でない場合、その他のリストでは参考として記載される場合もあるが参照されない。そこで外国価格がルール上参照可能なリストでない場合、原価計算方式で算定された革新的な新薬の外国価格との比をみていく。2021年4月～2023年8月掲載のNME（全115成分）の内原価計算方式で何らかの加算が適用されたものを革新的な新薬と定義し、中医協資料において何らかの外国価格の記載があった7成分を対象とし、算定薬価と外国価格との比を図表4に示している。革新性の高いNMEであっても外国価格がルール上参照可能なリストではない場合、外国平均価格の56%（平均値）の薬価となっており、参照可能なリスト掲載がある場合と比べて低かった。1を上回った数は0、1を下回った数は7と全てが1を下回っていた。また、外国平均価格調整内（0.75～1.25）におさまっているものが2と参照可能なリスト掲載がある場合と比べて少なかった。中には日本の薬価が外国価格を大きく下回る品目があり、最初に承認された国との承認年月の差では6か月未満と短い場合も見られた。

図表4 原価計算方式で算定された革新的な新薬の算定薬価の外国価格との比
（外国価格がルール上参照可能なリストでない場合）

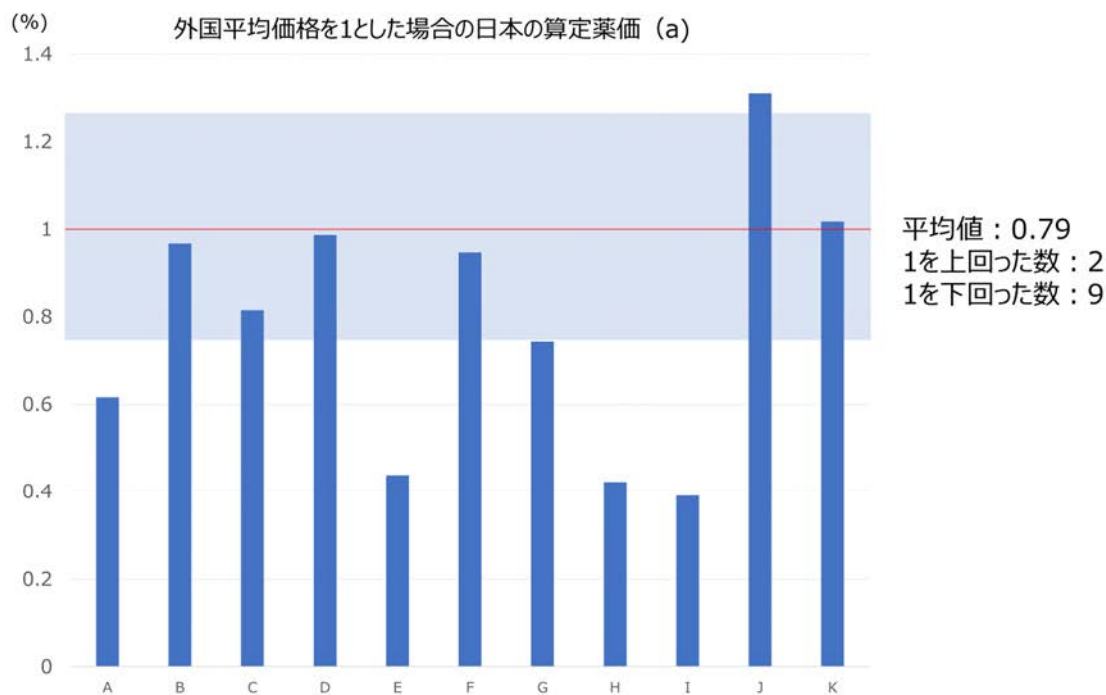


注1: 2021年4月～2023年8月掲載のNMEで、原価計算方式で何らかの加算が適用され、中医協資料に何らかの外国価格の記載があった7成分を対象とし、参考価格として記載があったものから外国平均値を算出して記載

注2: 7成分をA～Gとして記載

出所: 中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

図4 薬価収載後に外国価格が付いた優先審査品目の算定薬価の外国価格との比



注1：中医協薬-1（令和5年11月10日）、【参考】薬価収載後に外国平均価格が参照できるようになった品目より、類似薬効比較方式Ⅱで算定された品目を除く11品目。

注2：2018年11月～2022年11月に薬価収載された新薬（314成分）のうち①優先審査対象であったもの②国際的な開発が進行中であって、米国・欧州に先立って承認されたか、米国・欧州いずれか早い方との申請時期の差が6か月以内の品目を満たす品目で2023年9月時点で、2か国以上の外国価格が参照できた品目を対象。

注3：11品目をA～Kとして記載

出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.1.2.6 薬価収載後に外国価格が付いた優先審査品目の算定薬価と外国価格との比

参考までに、日本での薬価収載が先行し後に外国価格が参照できるようになった優先審査品目（原価計算方式もしくは類（I）で算定されたもの）の外国価格との比をみている。ただし、中医協での公表データを用いており、著者が実施した調査と対象期間などが異なるため参考として記載する。（図4）

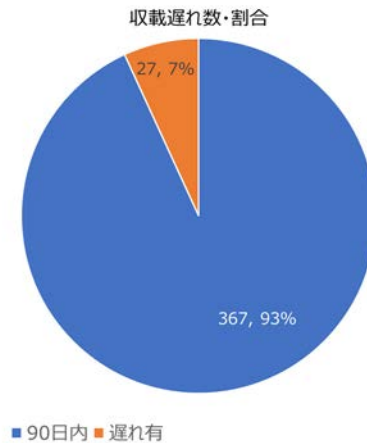
なお、「優先審査」とは、希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品の他、適用疾病が重篤であると認められること、既存の医薬品等と比較して有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められることのいずれかの要件に該当する医薬品について優先的に審査することである。

日本での薬価収載が先行し後に外国価格が参照できるようになった優先審査品目では、外国平均価格の79%（平均値）の薬価となっている。1を上回った数は2、1を下回った数は9と下回ったものが多かった。また、外国平均価格調整内（0.75～1.25）におさまっている品目が5であった。中には、日本の薬価が外国価格を大きく下回る品目があった。日本での薬価収載が先行し、後に外国価格が参照できるようになった優先審査品目、すなわち疾病が重篤である、既存の医薬品と比較して有効性又は安全性が医療上明らかに優れている場合でも、日本の薬価の方が低い傾向にあることが示唆される。

2.1.2.7 NMEの不服申し立て、収載遅れ状況

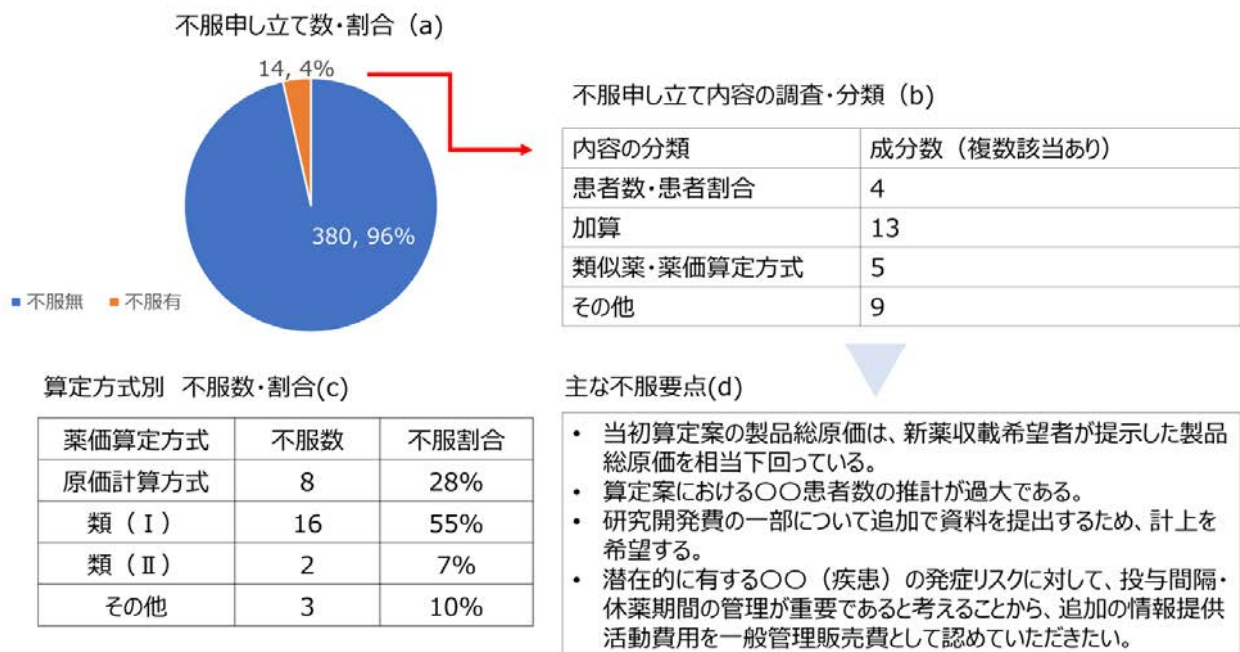
2014年4月から2023年8月までに薬価収載されたNMEを対象とし、薬価収載の銘柄別に1成分とカウントした全394成分の不服申し立て、および収載遅れ状況について調査、分析した。

図 5 NME の収載遅れ状況



注1：薬事承認から薬価収載まで90日超の場合を収載遅れとしてカウント。
出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

図表 5 NME の不服申し立て状況



出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

まず、NME の収載遅れ状況については承認から 90 日を超えて薬価収載されたものを収載遅れと定義し、90 日以内に収載されたものが 367 (93%)、遅れ有が 27 (7%) であった。(図 5) 収載遅れについてはその理由を公開資料から確認することはできず、薬価交渉に起因する場合もそうでない場合もある。

続いて NME の不服申し立てについては、無が 380 (96%)、有が 14 (4%) であった。(図表 5-a)

不服申し立てのあった 14 の内容を調査し、内容から患者数・患者割合に関するもの、加算に関するもの、類似薬や薬価算定方式に関するもの、その他の 4 つに分類した。(図表 5-b) その結果、対象疾患の患者数や対象患者の割合に関する申し立てが 4、加算の割合や内容に関する申し立てが 13、類似薬効比較方式における類似薬や薬価算定方式に関する申し立てが 5、用量・日数、体重等の一日薬価に影響する事項や剤型間比、規格間比、外国平均価格調整の適用、原価の追加開示、新薬創出加算等のその他の申し立てが 9 となっていた。加算に関する申し立てが最も多かった。不服はいずれも、収載時の薬価、

すなわち値付けに影響を及ぼす内容であり、医薬品の価値の評価への企業の不満要因となっていることが示唆される。不服申し立ての結果薬価算定方式が変わったものはなかったが、最類似薬が変わった事例は 1 あった。薬価算定方式別に不服数とその割合をみると原価計算方式は全体の 28%、類（I）は 55%、その他が 17%となっており、NME における内訳と類似する。（図表 5-c）図表 5-d に示す通り中医協資料に示される主な不服要点は、原価計算方式での算定への不服が目立つ。「当初算定案の製品総原価は、新薬収載希望者が提示した製品総原価を相当下回っている。」や「算定案における〇〇患者数の推計が過大である。」、「研究開発費の一部について追加で資料を提出するため、計上を希望する。」、「潜在的に有する〇〇（疾患）の発症リスクに対して、投与間隔・休薬期間の管理が重要であると考えことから、追加の情報提供活動費用を一般管理販売費として認めていただきたい。」といったように、収載時の薬価に大きな影響を及ぼす患者数や原価の査定の程度が論点となっており、企業の納得度が低いことが示唆される。

2.1.2.8 小括：NME の薬価算定の現状分析

NME の薬価算定方式では類（I）が 243（62%）と最も高い割合を示し、次いで原価計算方式が 111（28%）となっていた。革新的な医薬品の多くは原価計算方式により算定されるが、類（I）より加算の適用割合は高く加算率は低かった。

NME の薬価収載時に何らかの外国価格があるものが全体の約 7 割を占めており、欧米での値付けが先行している場合が多い。原価計算方式で算定されたものではその約 8 割が何らかの外国価格がある状態で日本の薬価収載をしており、その割合は類（I）より高かった。外国平均価格調整は 2018 年度以降では約 9 割が適用されていないということがわかった。

革新性の高い NME であっても外国平均価格の 87%（平均値）の薬価となっており、日本の薬価を基準に 1 を上回った数より 1 を下回った数が多かった。外国平均価格調整内（0.75～1.25）におさまっている品目が 11 品目と多かったことから、日本の薬価算定時に外国価格がある場合には直接又は間接に外国価格を反映した値付けとなっている可能性がある。他方で日本で最初に承認されたり、引上げようにも外国価格が 1 か国しかないなど参照できない場合、日本の薬価が外国価格を大きく下回る品目がある。

革新性の高い NME であっても外国価格がルール上参照可能なリストではない場合外国平均価格の 56%（平均値）の薬価となっており、参照可能なリスト収載がある場合と比べて低かった。外国の薬価を基準に全てが 1 を下回っていた。また、外国平均価格調整内（0.75～1.25）におさまっているものが 2 と参照可能なリスト収載がある場合と比べて少なかった。中には日本の薬価が外国価格を大きく下回る品目があり、最初に承認された国との承認年月の差では 6 か月未満と短い場合も見られた。わが国での薬価算定にあたり外国が先行した場合もルール上参照可能なリストに外国価格の掲載がなければ、薬価が安くなりうることが示唆された。

日本での薬価収載が先行し後に外国価格が参照できるようになった優先審査品目、すなわち疾病が重篤である、既存の医薬品と比較して有効性又は安全性が医療上明らかに優れている場合でも日本の薬価の方が低い傾向にあることが示唆された。

NME の不服申し立てについては有が 14（4%）、NME の収載遅れについては遅れ有が 27（7%）であった。不服申し立て数は 4%と多くはないが、原価計算方式での算定への不服内容が目立っていた。収載時の薬価に大きな影響を及ぼす患者数、原価の開示や査定の程度が論点となっており企業の納得度が低いことが示唆された。

2.1.3 小括

以上より、薬価算定ルールに関する現状、問題認識としては以下の通りである。

原価計算方式において

- 構造上個々の新薬の価値を薬価に反映しにくい性質がある。
- わが国の算定薬価は、外国価格に比較し低い傾向にある。
- 有用性等の加算の程度（加算率）が類似薬効方式に比較し低い傾向にある。

類似薬効比較方式、原価計算方式いずれにおいても

- 審査報告書ベースの有用性の評価ゆえに、加算として評価される医薬品の価値は必然的に限りがある。有効性や安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば患者や家族の生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。

以上のことより現行の薬価算定ルールにおいては、革新的な新薬の多様な価値を適切に評価できていないのではないか。

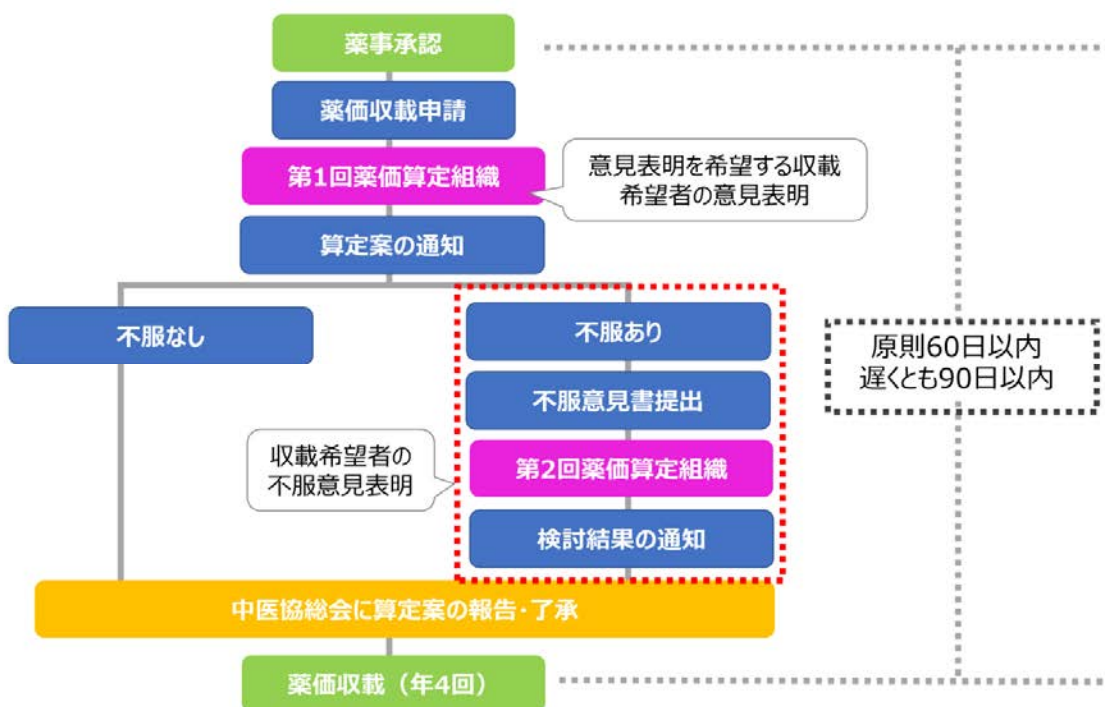
2.2 薬価算定プロセスの現状と問題認識

本章では、薬価算定プロセスの概要、プロセスにおいて重要な会議体の役割や機能と変遷、諸外国に比べて承認から収載までのアクセスが早い理由等を示し革新的新薬の薬価算定プロセスの現状と問題認識を述べる。

2.2.1 薬価算定プロセスの概要

わが国の新薬の薬価算定プロセスについては、図6に示す通りである。薬事承認に至る過程で並行して行われている薬価算定プロセスについて、大まかな流れとプロセスにある会議体の役割等を示す。

図6 新薬の薬価算定プロセス



出所：厚生労働省保険局医療課「新医薬品の薬価算定プロセス」を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.2.1.1 薬価算定の手順

新薬の薬価を決めるには、まず、製薬企業が厚生労働省に「薬価基準収載希望書」を提出する。薬価基準収載希望書は医薬品の特徴や希望する薬価とその根拠、予測投与患者数などを記載したもので、薬価を決める基礎資料の一つとなる。実際には医薬品医療機器等法¹⁸に基づいて正式に製造販売承認を取得する前に、薬価基準収載希望書の案を基に厚生労働省と企業による交渉が開始されている。

新薬が正式に承認されると製薬企業から提出された資料等をもとに、厚生労働省（医療課）が薬価の算定原案を作成する。算定原案は有識者で構成される薬価算定組織で検討され、ここで薬価の算定案を決めて製薬企業に通知する。通知内容に企業の不服がない場合は厚生労働大臣の諮問機関である中医協総会に報告され、了承されれば薬価収載となる。薬価算定組織は非公開で実施されるが意見表明を希望

¹⁸ 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の略称

する収載希望者の意見表明が認められており、冒頭のみ参加、意見表明することが可能となっている。また、2021年度以降は薬価算定組織開催の数か月後には議事録の一部がマスキングされた形で厚生労働省WEBサイトにて公開されているが、薬価算定案などは公開されていない。

2.2.1.2 不服申し立て

薬価算定組織が決めた薬価算定案に不服がある場合、製薬企業は不服意見書を提出することができる。不服意見書が提出されると薬価算定組織が再び開催され、企業から意見を聞いた上で薬価算定案の修正について検討する。検討結果を企業に通知し中医協で了承されれば薬価収載される流れとなる。

不服意見に対する検討結果にも納得いかなければ、製薬企業は薬価収載を見送って厚生労働省と交渉を続けたり薬価収載希望書を取り下げたりすることも可能となっている。

2.2.1.3 新薬の薬価収載機会

新薬の薬価収載のタイミングは基本的には2月、5月、8月、11月の年4回と決められている。薬価の本改定が行われる年は、2月の薬価収載が改定後の4月にずれる。ただし、抗HIV薬等、年4回のタイミングにかかわらず緊急的に薬価収載される医薬品もある。薬価収載は承認から原則60日以内、遅くとも90日以内に行うというルール（以降、「60日ルール」と記載）があるが、ルールの背景等については後に述べることにする。

2.2.1.4 新薬の薬価算定に関わる会議体：中医協総会と薬価専門部会、薬価算定組織

薬価算定プロセスにおいて中医協総会は、新薬の薬価算定等についての調査審議を担う薬価専門組織の意見を聴取する。また、薬価の算定ルールを審議する薬価専門部会から審議結果を報告させ、いずれも総会で取り決めることとなる。（図7）

図7 中医協における薬価算定に関わる会議体の関係性



出所：「医療保険制度の現状」を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.2.1.5 中医協総会の役割

中医協とは、日本の健康保険制度や診療報酬の改定などについて審議する厚生労働大臣の諮問機関である。日本の保険診療および保険薬剤は公定価格制であり、厚生労働大臣に価格、つまり薬価決定権がある¹⁹。薬価の改定の際は、厚生労働大臣は中医協に諮問しなければならない²⁰。中医協の答申に基づき、2年ごとの診療報酬の改定を実施している。

委員は1号（支払い側）委員として、健康保険、船員保険及び国民健康保険の保険者並びに被保険者、事業主及び船舶所有者を代表する委員7人、2号（診療側）委員として医師、歯科医師及び薬剤師を代表する委員7人、公益委員、公益を代表する委員6人の20人で組織される。

1号（支払い側）委員は支払側委員の任命に当たっては、医療に要する費用を支払う者の立場を適切に代表し得ると認められる者の意見に配慮して決定される。2号（診療側）委員は診療側委員の任命に当たっては、地域医療の担い手の立場を適切に代表し得ると認められる者の意見に配慮して決定される。公益委員は会議の日程、議題等、中医協の運営に関する事項について協議を行い、1号（支払い側）委員、2号（診療側）委員はその協議の結果を尊重することになっている。

中医協は新薬の薬価算定等について調査審議するため必要があるときは、医学、歯学、薬学、医療経済学等に係る専門的知識を有する者により構成される薬価算定組織に意見を聴くことができることとされる²¹。

2.2.1.6 薬価専門部会の役割

薬価専門部会は、薬価制度改革などにかかる専門的事項を調査審議することを目的に1990年に設置されている。委員は1号（支払い側）委員、2号（診療側）委員、公益委員いずれも4名ずつで組織され専門委員として業界代表3名が1999年より参加している。

薬価改定の議論に応じて開催されており、厚生労働省WEBサイトによると直近では2021年に10回、2022年に11回、2023年に25回開催されている。中医協総会と同様コロナ渦以降はYouTubeにて配信がなされており、開催時間内に限り誰でも聞くことができる。

2.2.1.7 薬価算定組織の役割

薬価算定組織は、薬価算定過程の透明化や適正な手続きを確保することを目的に2000年に設置されている。薬価算定組織では新薬の薬価算定について、類似薬の有無、類似薬、最類似薬選定の妥当性、補正加算適用（加算要件への適否）、製品製造原価の妥当性（原価計算方式の場合）、薬価算定案に対する企業の不服意見の妥当性などを検討する。また、市場拡大再算定²²の適否なども判断している。

委員は常時、薬価算定組織に参加し意見を述べる委員（10名程度）と専門委員（30名程度の中から必要に応じて数名を指名）がおり、医学、薬学、歯学、医療経済学の各分野から代表となる専門家で構成される。

薬価収載等に応じて月1回程度開催されており、厚生労働省WEBサイトによると直近では2020年度

¹⁹ 健康保険法第76条

²⁰ 健康保険法第82条

²¹ 中央社会保険医療協議会議事規則第14条

²² 年間販売額が予想販売額の一定倍数を超えた場合等には、薬価改定時に薬価を引き下げるルール。

に 8 回、2021 年度に 10 回、2022 年度に 8 回開催されていた。

2.2.1.8 薬価算定組織に対する指摘と情報公開

薬価算定組織は、薬価算定過程の透明化や適正な手続きを確保することを目的に 2000 年に設置された。それから 20 年を経た 2020 年 11 月の政府の行政改革推進本部が実施した「秋の行政事業レビュー」において、「薬価算定の透明性・適正性の確保」がテーマの一つとなった。評価を行う有識者からは中医協の薬価算定組織、費用対効果専門組織の情報開示（委員情報や審議内容などの公開）が十分でない²³と指摘する声が続出した。これを踏まえ厚生労働省は両組織の委員名簿、各委員の利益相反情報、議事録について、原則公開することを決定した。

2021 年 1 月 1 日時点情報より厚生労働省 WEB サイトにて委員名簿が公開されており、委員の氏名と現職が公開されている。2023 年 12 月 19 日現在 39 名が委員となっており、その内訳は医師が最も多く 77%、薬剤師が 15%、歯科医師が 8%となっており、この中に医療経済学の各分野から代表となる専門家も含まれている。

また、検討する医薬品の製造販売業者や競合企業から寄付金の受領 500 万円超で審議不参加（退出）、50 万～500 万円で議決不参加という規定があるが、各委員の利益相反情報は 2021 年 3 月開催分から同様に公開される。議事録は 2021 年 4 月開催分より開催後数か月のラグをもって、必要なマスキングを施し公開されている。

この他「秋の行政事業レビュー」においては薬価算定において原価計算方式を適用する場合、「製品総原価の開示度が低い医薬品の薬価の妥当性・適正性について、国民にわかりやすいものとなっているか」との疑問視もなされている。

2.2.1.9 薬価算定組織の情報公開を通じた変化

薬価算定組織の議事等公開状況については、表 3 を参照いただきたい。2023 年 12 月 22 日時点で厚生労働省 WEB サイトに掲載されていた薬価算定組織の議題や資料を一覧にまとめている。その上で、掲載される議題、資料、委員名簿、議事録からわかることは何かを客観視し述べたい。

²³ 政府の行政改革、「薬価算定の透明性・適正性の確保 取りまとめ」、内閣官房、https://www.gyokaku.go.jp/review/aki/R02/img/torimatome_11.pdf（参照：2024/1/31）

表3 中医協 薬価算定組織の議事録等公開状況

年度/回数	開催日	議題	資料
令和5年度第1回	2023年4月18日	新薬の薬価改定について 市場拡大再算定の要件該当性等について	5月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 5月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和4年度第7、8回	2023年2月14日	新薬の薬価改定について 市場拡大再算定の要件該当性等について	3月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 3月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和4年度第5、6回	2022年10月18日	新薬の薬価改定について	11月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 11月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和4年度第3、4回	2022年7月19日	新薬の薬価改定について	8月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 8月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和4年度第1、2回	2022年4月19日	新薬の薬価改定について 市場拡大再算定の要件該当性等について	5月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 5月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和3年度第9、10回	2022年3月22日	新薬の薬価改定について	4月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 4月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和3年度第7、8回	2021年11月30日	市場拡大再算定及び用法用量変化再算定について 小児適応効能追加及び希少疾病効能追加等に対する加算について 不妊治療薬について 新薬の薬価改定について	市場拡大再算定及び用法用量変化再算定(類似薬を含む) 競合品目・競合企業リスト 小児適応効能及び希少疾病効能追加等に対する加算 競合品目・競合企業リスト 4月収載新薬(不妊治療薬) 競合品目・競合企業リスト 4月収載新薬 競合品目・競合企業リスト 再算定分、小児希少加算分、不妊治療分、4月新薬分 委員からの申告書
令和3年度第6回	2021年11月2日	新薬の薬価改定について(不妊治療薬)	4月収載新薬(不妊治療薬) 競合品目・競合企業リスト 4月収載新薬(不妊治療薬) 委員からの申告書
令和3年度第5回	2021年10月26日	新薬の薬価改定について(11月収載新薬)	11月新薬・市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 11月新薬・市場拡大再算定 委員からの申告書
令和3年度第3、4回	2021年7月13日	新薬の薬価算定について 市場拡大再算定について	8月新薬、再生医療等製品及び市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 8月新薬、再生医療等製品及び市場拡大再算定 委員からの申告書 8月新薬(不妊) 競合品目・競合企業リスト 8月新薬(不妊) 委員からの申告書
令和3年度第1、2回	2021年4月20日	新薬の薬価算定について 市場拡大再算定について	5月新薬、再生医療等製品及び市場拡大再算定 競合品目・競合企業リスト 5月新薬、再生医療等製品及び市場拡大再算定 委員からの申告書 5月新薬及び市場拡大再算定(不妊) 競合品目・競合企業リスト 5月新薬及び市場拡大再算定(不妊) 委員からの申告書
令和2年度第8回	2021年3月23日	—	4月新薬 競合品目・競合企業リスト 4月新薬 委員からの申告書

出所：2023年12月22日時点で、厚生労働省WEBサイトに掲載される薬価算定組織の議題や資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

議題の掲載について

近年の議題(2021年10月以降)には「新薬の薬価改定について」と示されている。議題から、新薬の薬価(値付け)について議論がされていることがわからなかった。正しくはかつて示されていた「新薬の薬価算定について」である可能性が高い。

資料の掲載について

競合品目・競合企業リストでは、申請品目に係る競合品目、競合企業及びその選定理由が確認できる。委員からの申告書では、委員の寄付金や契約金等の受け取り状況が確認できる。上記2点より、委員の退室理由等、利益相反(COI: conflict of interest)状況が明らかである。しかしながら、薬価算定案など、医薬品の価値やその評価について客観視できる資料は掲載されていない。

委員名簿・議事録の公開について

委員名簿の公開により全委員の氏名、現職と、その変更履歴について確認できる。また、議事録の公開により新薬についてはこれまで公開されていなかった様々な情報を確認することができる。薬価算定組織の議事録公開を通じた変化の例を表4に示す。例えば特に当該医薬品について意見を伺った委員(2名~4名程度)が誰なのか、当該企業が意見陳述をしたかどうか、その際専門家が同席したかどうか、また、企業の意見陳述、委員の意見や事務局の回答等の内容はマスキング部分を除き明らかになっている。

ただし会議冒頭に事務局より非開示の薬価算定案について説明がなされ、事務局算定案に対する意見を聞く形をとっている為、様々な推測を基に読まなければならない。委員の利益相反(COI)と議論の

関連性については透明性を帯びたものの一般的にみてどのような価値がどの程度評価されて薬価として算定されているのか、分かりやすく納得できる資料とは言い難い。非開示の薬価算定案において可能な情報を公開するもしくは別に提示することで、医薬品の価値の評価の程度や有無の理解ができる情報の公開について検討の余地があるのではないか。

表 4 薬価算定組織の議事録公開を通じた変化の例

議事録公開による変化	議事録公開前		議事録公開後
	第三者	当該企業	第三者
1回目の意見陳述の有無	×	○	○
専門委員の同席の有無	×	○	○
1回目の企業意見陳述概要	×	○	○（マスクを除く）
1回目の委員と当局の議論概要	×	×（間接的に後から把握）	○（マスクを除く）
2回目の意見陳述の有無	○（中医協資料から推測可能）	○	○
専門委員の同席の有無	×	○	○
2回目の企業意見陳述概要	×	○	○（マスクを除く）
2回目の委員と当局の議論概要	×	×（間接的に後から把握）	○（マスクを除く）
不服申し立ての有無	○	○	○
不服申し立て前後の変化	変更前情報は不明。ただし、変更がなされたかどうかはわかる。		○（マスクを除く）

注：確認できる事項に○、確認できない事項に×を記す

出所：医薬産業政策研究所にて作成

2.2.1.10 中医協資料「新医薬品の薬価算定について」

中医協での新薬の薬価算定に関する公開情報の変遷をみていく。原価計算方式で算定された品目を例に、書かれている事項を表 5 に整理し示す。2023 年 12 月 22 日時点で厚生労働省 WEB サイトに掲載されていた中医協総会における「新薬の薬価算定について」記載される直近の 2023 年 11 月、およびその 10 年前の 2013 年 11 月、そして最も掲載年月の古い 19 年前の 2004 年 11 月時点の情報を一覧にまとめている。確認できる事項に○、確認できない事項に×を記している。

ルールの変更に伴い修正を行っていると思われる項目がいくつかあり、経年と共に記載事項が増えていることがわかる。医薬品の薬価や加算の有無、その割合はみることもできるものの基本的には 19 年前も今も一般に、医薬品にどのような価値があるか、どのような理由、議論がなされて値付けがなされたかを理解するには難しい資料と言える。

表 5 中医協での新薬薬価算定に関する公開情報の変遷（現在、10年前、19年前）

新医薬品の薬価算定について（1枚目）			
中医協資料における 新薬の薬価公表資料	2023年11月 現在	2013年11月 10年前	2004年11月 19年前
薬効分類	○	○	○
成分名	○	○	○
新薬収載希望者	○	○	○
販売名（規格単位）	○	○	○
効能・効果	○	○	○
主な用法・用量	○	○	×
算定	算定方式	○	○
	製品総原価	○	○
	営業利益	○	○
	流通経費	○	○
	消費税	○	○
	補正加算	○	×
	加算係数	○	×
外国平均価格調整	○	○	
算定薬価	○	○	
外国価格	○	○	
最初に承認された国（年月）	○	○	
新薬収載 希望者による市場 規模予測	予測年度	ピーク時	ピーク時
	予測本剤投与患者数		
	予測販売金額		
製造販売承認日	○	○	
薬価基準収載予定日	○	○	

薬価算定組織における検討結果のまとめ（2枚目）			
中医協資料における 新薬の薬価公表資料	2023年11月 現在	2013年11月 10年前	2004年11月 19年前
算定方式	○	○	○
第一回算定組織（年月日）	○	○	○
原価計算方式を採用する妥当性	成分名	○	○
	イ. 効能・効果	○	○
	ロ. 薬理作用	○	○
	ハ. 組成及び	○	○
	化学構造	○	○
	ニ. 投与形態	○	○
	剤形	○	○
	用法	○	○
	類似薬がない根拠	○	○
	補正加算	○	○
通期性加算	○	○	
有用性加算（Ⅰ）	○	○	
有用性加算（Ⅱ）	○	○	
市場性加算（Ⅰ）	○	○	
市場性加算（Ⅱ）	○	○	
特定用途加算	○	○	
小児加算	○	○	
先駆加算	○	○	
新薬創出・適応外薬解消等促進加算	○	×	
費用対効果評価への該当性	○	×	
当初算定案に対する新薬収載希望者の 不服意見の要点	○	○	
上記不服意見に対する見解	○	○	
第2回算定組織（年月日）	○	○	

※確認できる事項に○、確認できない事項に×を記す
出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.2.1.11 中医協総会における患者の立場の委員の参画と発言について

2005年の中医協総会より、患者一般の声をより適切に反映できるよう患者の立場の委員の参画が始まった。現在委員を含め歴代委員は4名、いずれも日本労働組合総連合会「患者本位の医療を確立する連絡会」に所属される方であり、既に委員を終えた3名は最大任期の6年を担当されていた。すなわち、患者の立場を代表する委員でありながら、疾患によらず6年間継続した一名にとり限られている実態がある。

中医協総会において薬価及び薬価算定ルールに関して議題として取り上げられた過去5年間計20回の総会について、委員の発言状況を調査した。2号（診療側）委員の発言が9回であったのに対し、1号（支払い側）委員の発言は12回と全20回の半数を超えていた。しかしながら1号（支払い側）委員の患者の立場の委員の発言は4回と少なく、限られていた。また、特に委員が交代したのちの発言は少なく交代後の発言には時間を要する可能性がある。（表6）新たに委員になられる患者の立場の委員に対し公的な教育システムがあるかについては、公開情報からは確認できなかった。

2019年2月、世界に先駆けて日本で承認された医薬品の薬価収載にあたって開かれた中医協総会では、患者の立場の委員からの安全性（副作用情報の収集）の要望に加え、有用性の評価についても「患者視点の患者自身のQOLがどう変化したのかも加味した評価をしていただきたい」という主旨の発言があった。

また、新薬の薬価算定に関わる会議体ではないが支払い側に患者の立場の委員の参画がある費用対効果評価専門部会では、2021年12月に患者の立場の委員より「当事者の意見を広く吸い上げた上で評価していただける体制」の要望があり、「今後の論点として考えていきたい」旨のやり取りがあったが、現時点まで公表されるやり取りはなされておらず、改善はなされていない。

患者が参画する機会は中医協総会に限られ、患者の立場を代表する委員でありながら疾患によらず6

年間継続した 1 名にという枠に限られている実態と、発言回数が少なく発言をしても要望などに対する議論がその後十分になされる様子は見て取れないことから、患者を含めた公平な議論と合意決定がなされる仕組みではないと言える。

表 6 中医協総会における患者代表の発言回数

開催日	議題等	患者発言
2023年8月23日	1. 医薬品の新規薬価収載等について	0
2023年8月2日	1. 医薬品の新規薬価収載について	0
2023年5月17日	1. 医薬品の新規薬価収載等について	0
2022年12月21日	1. 令和5年度薬価改定の骨子（案）について	0
2022年8月10日	1. 医薬品の新規薬価収載について	0
2022年6月1日	1. 医薬品の新規薬価収載について	0
2022年4月13日	1. 医薬品の新規薬価収載について	0
2022年2月2日	1. 医薬品の新規薬価収載について	1
2021年12月22日	1. 令和4年度薬価制度改革の骨子（案）について	0
2021年12月3日	1. 薬価調査、特定保険医療材料価格調査の結果速報について	1
2021年11月17日	1. 医薬品の新規薬価収載について	1
2020年1月15日	1. 医薬品の薬価収載等について	0
2019年12月20日	1. 令和2年度薬価制度改革の骨子（案）について	0
2019年12月4日	1. 薬価調査、特定保険医療材料価格調査の結果速報について	0
2019年11月13日	1. 医薬品の新規薬価収載について	0
2019年8月28日	1. 医薬品の薬価収載等について	0
2019年2月20日	1. 医薬品の薬価収載等について	1
2018年12月12日	1. 消費税引上げに伴う薬価改定の骨子（案）について	0
2018年12月5日	1. 医薬品の薬価収載について	0
2018年10月17日	1. 消費税引上げに伴う薬価・材料価格の改定に係る関係業界からの意見聴取について	0

注1：中医協総会において議題に「薬価」に関連する事項があり、2023年12月22日時点で議事録が確認できたもの、過去5年分を基に医薬産業政策研究所にて作成

注2：赤線では、患者を代表する委員の交代があったことを示す。

2.2.1.12 薬価算定プロセスと患者コミットメント

政策研主催イベント「医薬品の価値ワークショップ」（2021年10月に実施）では、今村恭子氏（一般社団法人医療開発基盤研究所 代表理事）より、医薬品の価値や評価について、日本では患者・市民が参画して意見交換する機会が乏しい現状があること、さらに、制度的な特性としてそれほどまでの患者コミットメントを必要とせずとも承認、薬価収載されるという面がある一方でそこにはアンメットニーズが隠れているのではないかといったご発言があった。患者一般の声をより適切に反映できるという主旨に沿えば患者や家族、市民の声により耳を傾けていく必要があるのではないだろうか。

2.2.1.13 小括：薬価算定プロセスの概要

薬価算定プロセスの透明化や適正な手続きを確保する必要性の指摘を踏まえた改善がなされてきており、かつてに比べると公開される情報量や幅は各段に拡大している。しかしながら薬価算定組織の公開情報、中医協での薬価算定資料といった薬価算定に関わる資料は国民視点でわかりやすさや納得性に至るような公開情報とはなっていない。中医協の薬価算定資料については医薬品にどのような価値があるか、どのような理由で示された値付けがなされたかを国民が知りうる唯一の資料であるが、薬価算定ルールの変更と共に複雑さを増す傾向もある。医薬品の価値の評価の程度や有無の理解ができる情報の公

開について、検討の余地があるのではないか。

新薬の薬価算定プロセスにおいて患者の立場の委員の参画があるのは、中医協総会 1 名のみと限定的である。また、歴代委員は 1 名が最大任期 6 年間に継続しており疾患によらず固定されている。

薬価算定に関する患者の立場の委員の発言は限られており、委員交代後発言まで時間を要する可能性も示唆された。患者一般の声をより適切に反映できるよう設けられた患者の立場の委員であるが患者視点の評価や当事者の意見を広く吸い上げられる評価体制とはなっておらず、患者を含めた公平な議論と合意決定がなされる仕組みではない。患者・市民が納得する観点で検討の余地がある。参加数や参加する人の養成体制等への課題もあると思われる。

現時点では疾患特有の困りごとや価値等に対し患者の意見を聞く機会は、中医協総会、薬価算定組織、薬価専門部会のいずれにおいても設けられていない。患者一般の声をより適切に反映できるという主旨に沿えば患者や家族、市民の声により耳を傾けていく必要があるのではないだろうか。

2.2.2 60日ルール背景と導入前後の変化、近年の状況

次に、60日ルールの背景と導入前後の変化、近年の状況について示す。

わが国では承認された新薬がおよそ60日で薬価収載、すなわち保険適用となり患者に届く。その背景には「60日ルール」という決まりがあり、それが守り続けられている。その結果承認された新薬を患者に早期に届けることに貢献している。承認から薬価収載までの60日間に何がなされているかと言うと、医療機関等で保険診療に用いられる医療用医薬品として医師が処方できるよう薬価を決め、官報²⁴に収載する手続き等がなされている。

諸外国ではどうか。諸外国とは医療保険制度や薬価を決めるプロセス等が異なる。しかし多くの国では、承認後新薬が患者に届くまでの期間は保険償還リストへアクセスできるようになるまでと捉えられていることから、価格を決めリストに収載するといった手続きがなされている点では日本と類似しているだろう。そしてその期間は短いことが患者にとって望ましく、様々な場面で比較されている。わが国と同様に社会保険方式であり皆保険制度に等しいドイツでは平均128日（中央値47日）、フランスでは平均508日（中央値443日）、欧州連合では平均517日²⁵となっている。わが国で承認された新薬が患者に届くまでの期間がおよそ60日であることは、世界に誇れる速さであると言えよう。ではなぜ速いのだろうか。本章では承認された新薬が60日で患者に届くようになった背景とその前後の変化、近年の状況を見ていく。

2.2.2.1 日米MOSS協議概要と60日ルールができるまで

過去の中医協議事録²⁶によると新医薬品については、1985年の日米MOSS協議に基づきそれ以降薬事法²⁷に基づく承認から薬価収載までのこの期間を原則60日以内、遅くとも90日以内にするということで約束がルール化されている。日米MOSS協議とは日米貿易摩擦下に行われたMarket-Oriented Sector-Selective talks²⁸のことで、「市場重視型分野別協議」と訳される。市場重視型とは市場アクセスを制限する障壁を取り除くことに重点を置いたアプローチであることを意味する。1985年1月、中曽根首相・レーガン大統領の日米首脳会談においてアメリカ側から日本において市場開放が期待される分野として、①電気通信、②エレクトロニクス、③医薬品・医療機器、④林産物の4分野が挙げられた。これを受けて各省の次官による日米2国間協議が進められることになった。医薬品・医療機器分野は6回の協議を経て、1985年12月11日に基本的合意（参考：図8）が達成され、この合意により医薬品・医療機器の承認審査手続の簡素化・迅速化が実施されるとともに「健康保険の診療報酬設定に関し透明性を一層確保し、また、新製品をより高い頻度で定期的に収載するための手続の設定」が検討されていく。その結果それまでは年に何回といった取り決めはなく慣例的に年2回程度だった新薬の収載は、1986年度より年4回収載へと変更された。承認を受けた医薬品がいつ保険適用になるのか見通せないという米国側の強い主張が通った格好であり、これが60日ルールの始まりである。

²⁴ 法令など政府情報の公的な伝達手段であり、明治16年（1883年）に太政官文書局から創刊された。現在では、内閣府が行政機関の休日を除き毎日発行する。

²⁵ IQVIA, “EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2022 Survey”, https://www.efpia.eu/media/s4qf1e9q/efpia_patient_wait_indicator_final_report.pdf（参照：2024/1/31）

²⁶ 2005年4月中央社会保険医療協議会薬価専門部会（第21回）、「議事録」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/shingi/2005/04/txt/s0420-2.txt>、（参照：2024/1/31）

²⁷ 2014年11月、薬事法は「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」（薬機法）に名称変更されている。

²⁸ 「1986 MOSS Agreement on Medical Equipment and Pharmaceuticals (Jan. 9, 1986)」、アメリカンセンターJAPAN WEBサイト、（参照：2024/1/31）

具体的な合意事項としては、「新薬は、承認後、より早く薬価収載されるよう、製造又は輸入の承認時期に合わせて年4回定期的に収載される。承認後できるだけ早く、原則60日以内、遅くとも90日以内に収載する。この方針は、1986年度以降に承認された新薬に適用される。」というものであり、有効期限はない。現在では「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」²⁹として、厚生労働省医政局長、保険局長による通知として発出され、「新医薬品の薬価基準収載が施行されるまでの標準的な事務処理期間は、当該新医薬品の承認から原則として60日以内、遅くとも90日以内とする。」ことが明記されている。

図8 MOSS協議での合意：「医薬品・医療機器」分野の成果の要点

A. 実施済事項

1. 医薬品、体外診断薬及び医療用具の承認審査に当たって、人種的または免疫学的に差のない外国臨床検査データの受け入れ
2. 体外診断薬の承認審査の迅速化
3. 製造国変更の場合の手続きの簡素化
4. 承認の変更を必要としない製品の軽微な変更の範囲の明確化
5. 輸入業者の住所変更の場合の手続きの簡素化
6. 製造承認の「合意」に基づく移転のための手続きの設定
7. 医薬品及び医療用具の承認審査過程の透明性の一層の確保
8. 既に承認を受けた製品について、税関だけで通関できることとする輸入手続きの簡素化
9. 医薬品及び医療器具の新規承認審査に当たって、厚生省の承認審査に時間的期限を付す「タイム・クロック」の設定

B. 今後実施される事項

1. キット製品の便益と特性を踏まえた承認手続き及び保険診療における償還価格に関する手続きの設定
2. 既に同一製品につき、他の企業に承認が与えられており、かつ、当事者間で「合意がなく」承認の移転が出来ない場合において、承認を付与するための簡素化された手続きの設定
3. 健康保険の診療報酬設定に関し透明性を一層確保し、また、新製品をより高い頻度でまた定期的に収載するための手続きの設定
4. 輸入される血液製剤及びその他の生物学的製剤に関する検定要件の変更及び規制手続きの明確化
5. 室温で安定でない医薬品に関する加速安定試験データ及び指定検査機関に委託し作成された無菌試験データの受け入れ手続きの設定

C. 継続案件

1. ビタミンに関する承認手続き及び関税の検討

出所：MOSS討議に関する日米共同報告，分野別討議に関する日米共同報告（1986年1月10日）を基に医薬産業政策研究所にて作成

²⁹ 2024年2月14日付 産情発0214第2号保発0214第2号「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」の「(2) 新医薬品の薬価基準収載の時期等」に記載される部分を指す。

表 7 MOSS 協議前後および、30 年を経過した近年の新薬薬価収載状況

年度	収載回数	収載月	収載までの日数 ^{※4}
1982年度	2	8、2	
1983年度	1	3	
1984年度	2	5、11	
1985年度	2	7、12 (2回ずつ)	
1986年度	4	6、8、11、3	
1987年度	3	5、8、11	
1988年度	4	4、5、8 (2回)、11	
1989年度	4	4、5、(6) ^{※1} 、8、11	
1990年度	5	4、5、8、11、3	
1991年度	3	5、8、11	
2012年度	5	4、5、8、11、2	
2013年度	3	5、8、11	
2014年度	5	4、5、9、11、2	
2015年度	3	5、8、11	57.7日
2016年度	5	4、5、8、11、2	62.8日
2017年度	3	5、8、11	56.3日
2018年度	5	4、5、8、11、2	63.2日
2019年度	3	5、9、11	65.0日
2020年度	4	4、5、8、11、(2) ^{※2}	64.5日
2021年度	4	4、5、8、11、 <u>3</u> 中間年改定	63.8日
2022年度	5	4、5、8、11、 <u>3</u> ^{※3}	約62日/7年間

注：緊急収載等は除外し、通常の新薬収載機会を掲載。
 ※1 1成分6月収載（デフィブラーゼ）あり。新薬収載機会としてはカウントしていない。
 ※2 中間年改定により、4月収載の場合承認から90日を超えてしまう2成分のみ薬価収載。通常の新薬収載機会としてはカウントしていない。
 ※3 2022年度は、3月に試行的に変更がなされた。
 ※4 緊急収載等は除外し、通常の新薬収載機会の平均値。

出所：中医協等各種情報を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.2.2.2 日米 MOSS 協議前後の変化および近年の状況

表 7 は日米 MOSS 協議での合意前後および、その後 30 年を経過した近年の新薬薬価収載状況を示している。1986 年度より年 4 回収載が開始され、導入から 3 年経過した 1989 年度には改定前年度（奇数年度）は 3 回、改定年度（偶数年度）は 5 回の現在と同様の定期的な新薬の薬価収載が行われており、近年まで規則正しく維持されている。実際には新薬の収載時期は、2 月、5 月、8 月、11 月の年 4 回である。このうち改定年は 2 月収載が 4 月となることで初回が 90 日以内収載となっている。通常の新薬収載機会 7 年間平均値では、90 日以内収載を含めても承認後収載まで 62 日となっていた。また表 7 には、中間年薬価改定時の新薬収載月の変更（2021 年 2 月収載は 4 月収載、2023 年 2 月収載は 3 月収載）も記している。2021 年度と同様の措置が続けば偶数年の 2 月の新薬収載（1～3 月期の新薬薬価収載）機会がなくなることへの懸念が出され、2023 年の初回の新薬収載時期を試行的に 3 月とする方針が示され実行された。2024 年度以降については現状では明らかになっていない。今後は 60 日ルールに則った収載機会の確保を維持しつつも、薬価制度改革等により新薬収載月の並びに軽微な変化が起きるのかもしれない。

2.2.2.3 NME の薬事承認から薬価収載までの日数について

近年の NME における薬事承認から薬価収載までの分布をみている。図表 6 には 2014 年度以降 2023 年 8 月までに新有効成分新医薬品として薬価収載された全 394 成分について、薬事承認から薬価収載までの日数を 30 日以内、30 日超 60 日以内、60 日超 90 日以内、90 日超 120 日以内、120 日超 150 日以内、150 日超の 6 区分に分けて示している。

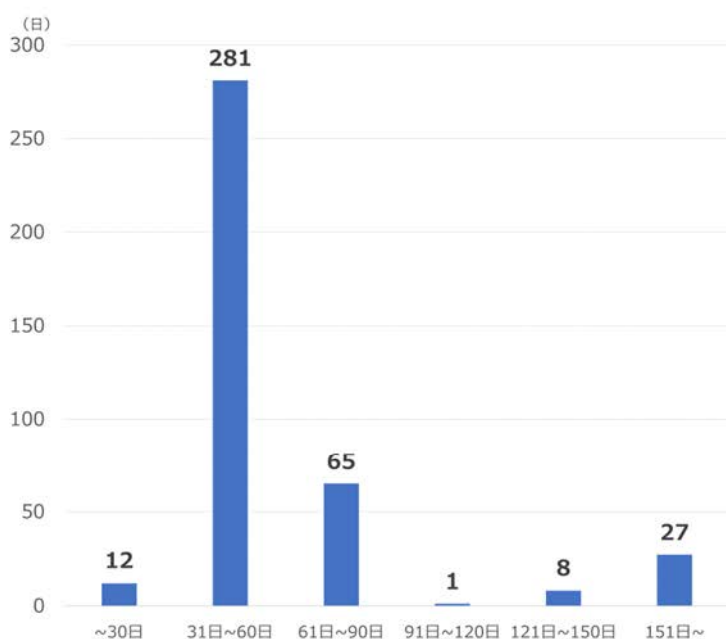
全体の 71.3%が 30 日超 60 日以内、16.5%が 60 日超 90 日以内に薬価収載されている。つまり 74.4%が 60 日以内、90.9%が 90 日以内に薬価収載され多くの新薬が 60 日ルールに則り薬価収載していると言え

る。

90日を超えて120日以内は1であるが、120日を超える事例は8.9%と一定程度あることがわかった。

「収載遅れ」の理由を公開資料から確認することはできない。また、薬価交渉に起因する場合もそうでない場合もあるが薬価が決まらずに薬価収載は迎えられないことから、薬価交渉が「収載遅れ」の一因にはなり得る。何等かの理由で薬価収載を一度見送った場合現行の薬価制度では次のタイミングまで2か月以上かかる為、90日を超えて120日以内では収載されにくく120日もしくは150日を超えてしまうことが想定される。

図表6 NMEの薬事承認から薬価収載までの日数



承認から収載まで日数	成分数	割合
30日以内	12	3.0%
31日以上60日以内	281	71.3%
61日以上90日以内	65	16.5%
91日以上120日以内	1	0.3%
121日以上150日以内	8	2.0%
150日以上	27	6.9%
60日以内収載	293	74.4%
90日以内収載	358	90.9%
120日超	35	8.9%

注：2014年度～2023年8月収載の全NME394成分収載数、再生医療等製品を除く。

出所：中医協資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.2.2.4 小括：60日ルールについて

わが国で承認された新薬が60日で患者に届くようになった背景とその前後の変化、近年の状況を見てきた。60日ルールの背景には日米MOSS協議での合意があり、40年近く経過する今もそのルールは厳守されもはやわが国に根付いていると言える。

ただし、多くはないが「収載遅れ」が生じていること、また「収載遅れ」の要因にもなりうる薬価交渉やその環境、薬価制度等、様々な変化がある。医薬品についてはモダリティの多様化をはじめ革新性等新薬そのものの変化もあり薬価の決め手となる交渉材料は多量化、多様化かつ複雑化している。そうした中で60日ルールができた頃と現在そして未来においては、60日の中身に違いがあるだろう。規制当局／製薬企業双方のやりくりだけで解決できない課題が生じることもある。そうした場合には承認された新薬が患者に届くまでの期間を維持しつつ、ギャップを埋める柔軟な対応を検討していかなければならない。

2.2.3 小括

以上より、薬価算定プロセスに関する現状、問題認識としては以下の通りである。

- 合意形成のゆがみ
 - 患者を含めた公平な議論と合意決定がなされる仕組みではない。

- 透明性の欠如
 - 医薬品にどのような価値があるか、どのような理由、議論がなされて値付けがなされたか、国民にわかりやすい情報公開となっていない。

- 患者・市民参画の不足
 - 患者の立場の委員の参画は中医協総会 1 名のみであり、疾患によらず一定期間（概ね 6 年間）固定されており参加数が極めて限られている。

- 収載をこなすプロセス
 - 収載時期が年 4 回と限られ固定されているため、薬価収載を一度見送ると最低でも追加で 60 日以上がかかり、その分アクセスを遅らせる懸念がある。

2.3 価値エビデンス創出の現状と問題認識

国民に多様な価値が届き続けるには、より幅広い価値エビデンス創出が重要となる。本章ではわが国の臨床試験における PRO (Patient Reported Outcome、患者報告アウトカム) の利活用状況と価値エビデンス創出に用いられるフランスの患者の声の収集について、事例を挙げる。

2.3.1 PRO の最新動向-臨床試験登録データベースを用いた調査・分析-

2.3.1.1 PRO について

PRO とは臨床アウトカムの一つであり、包括的尺度として SF-36³⁰、EQ-5D³¹、疾患・症状特異的尺度として疼痛に用いられる VAS³²、関節炎・腰痛に用いられる WOMAC³³等がその代表例である。症状や QOL に関して患者が自分自身で判定し、その結果に医師を始め他の者が一切介在しないという評価方法である。患者自身の症状や印象の変化が重要な疾患が対象であり、すべての疾患が該当するものではない。「痛み」や「痒み」、「眠気」のような患者の主観以外に信頼性の高い適切な評価方法がないものが想起しやすいが、そうした疾患に対しわが国ではかつては RO を利用せざるを得ないとする消極的な活用がなされていた。しかし近年は医師による評価が可能なものであっても患者が直接評価することで同等あるいはそれ以上に意義のある評価が得られる場合に、PRO を積極的に活用するようになりつつある。

また、政策研ニュースの No65 「PPI (Patient and Public Involvement) の最新動向－患者・市民参画の成長期－」³⁴に記載するように、2021 年 9 月には、PMDA より「独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス」³⁵ (以下、患者参画ガイダンス) が発行されている。そしてその中で、PRO は「審査において患者の Benefit を評価するための有用なツール」であり「活用することは、臨床的意義が患者に支持される医薬品等の効率的な開発に資する」との記載がなされていることから、今後 PRO を評価項目の一部とした治験の結果を含む承認申請が日本でも増加することが想定される。

そうした背景から、PRO に近年増々注目度が高まっているのではないかと推測される。そこで臨床試験における医薬品の評価において PRO 関連情報がどの程度用いられるようになってきているのかについて最新の動向を把握するため、臨床試験登録データベース (Clinical Trials.gov) を用いた調査・分析を行った。

2.3.1.2 評価手法

臨床試験登録データベースの中でもグローバルで代表的な ClinicalTrials.gov を用いて、PRO に関連した臨床試験がどの程度実施・計画されているかを調査・分析した。データベースにおける検索条件は以下のとおり。

- a) 2013 年 1 月 1 日から 2022 年 12 月 31 日までに新規に登録された試験計画書の中で、Interventional Study (介入試験) で、かつ介入の対象として Drug あるいは Biological と記載があるもの (Device,

³⁰ The 36-item short form of the Medical Outcome Study Questionnaire の略

³¹ EuroQol 5 dimensions の略

³² Visual Analogue Scale の略

³³ Western Ontario MacMaster University Osteoarthritis Index 略

³⁴ 医薬産業政策研究所、「PPI (Patient and Public Involvement) の最新動向－患者・市民参画の成長期－」、政策研ニュース No.65 (2022 年 3 月)

³⁵ 患者参画検討ワーキンググループ、「患者参画ガイダンス」、PMDA、<https://www.pmda.go.jp/files/000242830.pdf> (参照 : 2024/1/31)

Behavior, Radiation 等は除外)

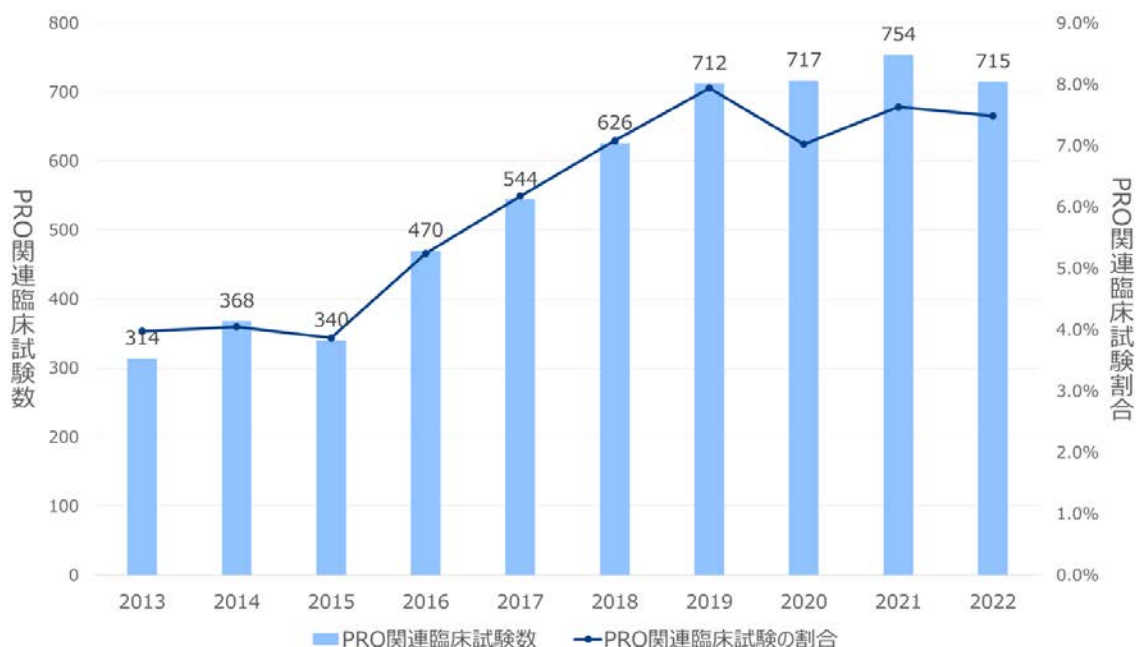
b) PRO に関連し得る検索用語として、Patient Reported, Patient self-reported, Patient Handling Questionnaire, Patient Satisfaction とし、これらのうちいずれかの用語が評価項目 (Outcome Measures) に記載されているもの

注) 本検索条件は、あらゆる PRO 評価ツール (VAS や EQ-5D 等) を具体的に規定して検索できていないため、網羅性には限界がある。また、評価手法の解説として直接評価、患者満足といった表現を用いただけの試験 (本来の PRO には該当しない) も、PRO 関連臨床試験として抽出されていることに留意する必要がある。

2.3.1.3 PRO 関連臨床試験数の推移

検索条件 a) にて抽出された臨床試験 (対象期間、介入方法が一致する全ての臨床試験: 以下、対象総臨床試験と略す) は、トータルで 91,007 試験あった。その中で、検索条件 b) でヒットした試験 (以下、PRO 関連臨床試験) は、5,560 試験であった。年次推移 (図 9) を見ると、PRO 関連臨床試験数、PRO 関連臨床試験数の割合ともに 2019 年まで右肩上がり増加していたが、2020 年から 2022 年まではほぼ横ばいであった。一概には言えないがこの期間はコロナ流行期であったため、新たな臨床試験の開始や進行中の臨床試験を休止・中断する等があり、総臨床試験数や PRO 関連臨床試験数に影響を与えた可能性がある。

図 9 PRO 関連臨床試験数と対象総臨床試験数に対する割合の年次推移



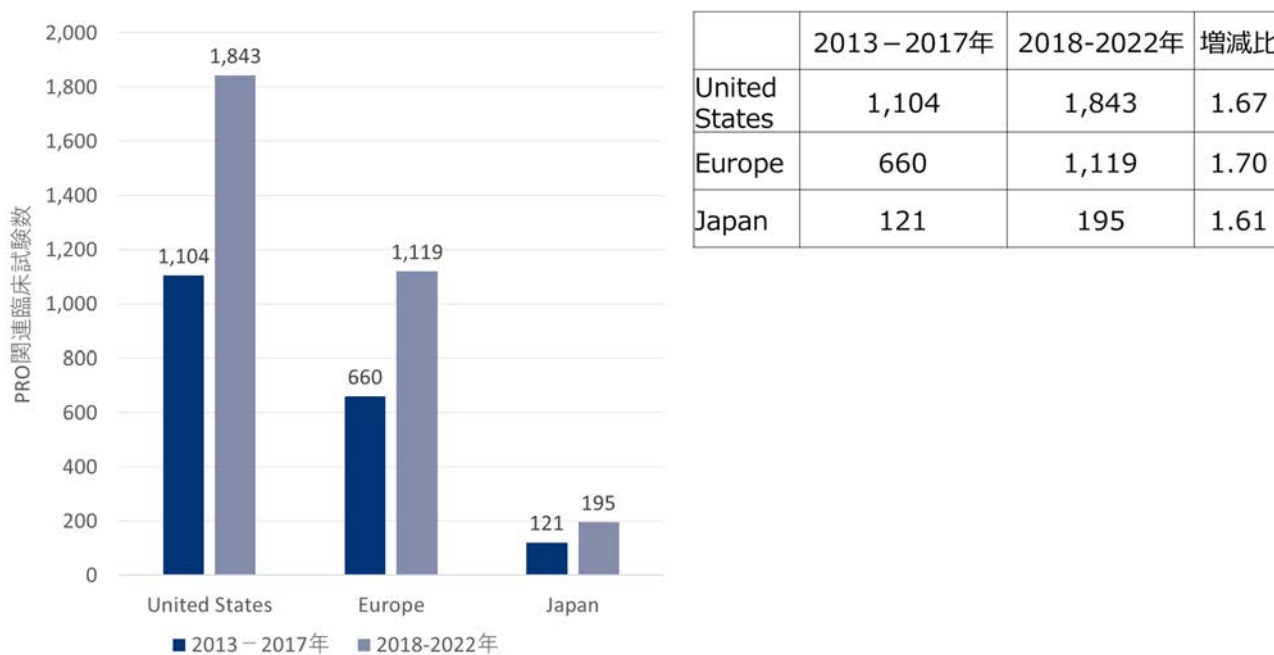
注: PRO 関連臨床試験数は 10 年間総計 5,560 試験

出所: 臨床試験登録データベース Clinical Trials.gov データを基に医薬産業政策研究所にて作成

2.3.1.4 地域別、および試験 Phase 別

世界で 5,560 試験の PRO 関連臨床試験数の内訳では、米国で 2,947 試験、欧州で 1,779 試験、日本で 316 試験と日本はまだまだ少ないと言える。PRO 関連臨床試験数を 2 つ（2013 年-2017 年と 2018 年-2022 年）に区切り地域別にみると米国、欧州、日本いずれにおいても増加しており、日本の増加比は 1.6 倍と欧州や米国並みであった。（図表 7）

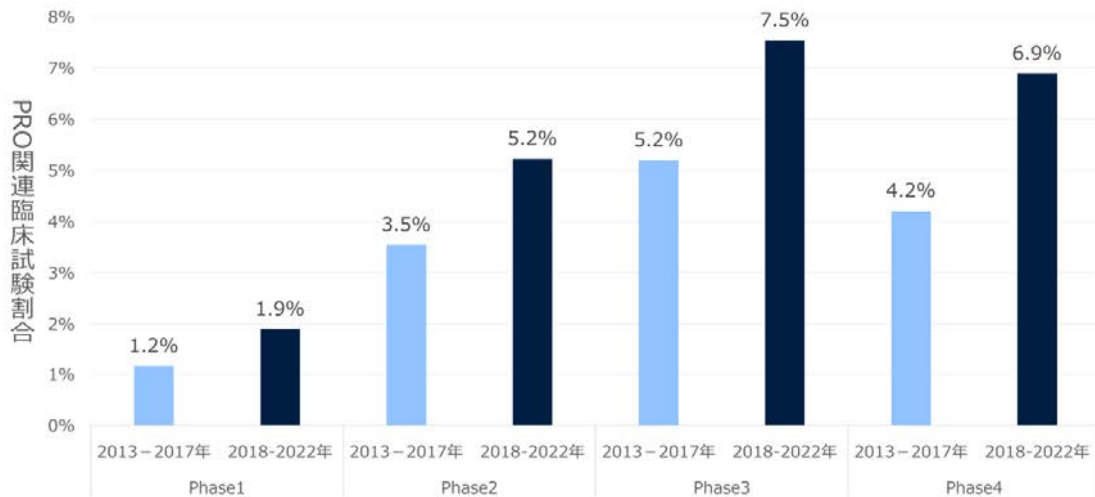
図表 7 地域別の PRO 関連臨床試験数、増減比



注：PRO 関連臨床試験数の 10 年間総計 5,560 試験の内、米国、欧州、日本の占める件数を示している
 出所：臨床試験登録データベース Clinical Trials.gov データを基に医薬産業政策研究所にて作成

次に、わが国の対象総臨床試験数に対する PRO 関連臨床試験数の割合を Phase 別にみると、Phase3 で最も高く次いで phase4 で高かった。5 年間毎の比較でみると、全ての phase において直近 5 年間での割合が増加していた。（図 10）

図 10 Phase 別の PRO 関連臨床試験数と割合



	Phase1		Phase2		Phase3		Phase4	
	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年
PRO関連臨床試験数	163	301	595	1078	475	743	355	499
対象総臨床試験数	14,006	15,799	16,764	20,604	9,130	9,850	8,426	7,239
PRO関連臨床試験数の割合	1.2%	1.9%	3.5%	5.2%	5.2%	7.5%	4.2%	6.9%

出所：臨床試験登録データベース Clinical Trials.gov データを基に医薬産業政策研究所にて作成

表 8 日本での試験 Phase 別 PRO 関連臨床試験数内訳

日本	Phase1		Phase2		Phase3		Phase4	
	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年	2013-2017年	2018-2022年
PRO関連臨床試験数	1	4	35	53	89	146	1	1

出所：臨床試験登録データベース Clinical Trials.gov データを基に医薬産業政策研究所にて作成

2.3.1.5 国内 Phase3 で用いられた PRO 評価指標

表 8 に示す通り日本での試験 Phase 別 PRO 関連臨床試験数の内訳をみると Phase3 (235 件)、次いで Phase2 (88 件) で多く、いずれの Phase でも直近 5 年間で伸びも示されていた。最も多かった Phase3 ではどのような評価指標が用いられていたか特徴的な事例を表 9 に示す。

表9 日本のPhase3試験に含まれていたPROの事例

疾患	PROの事例	PRO概要
クローン病	SF、APS	1日の平均排便頻度(SF)および1日の平均腹痛スコア(APS)
	NRS	患者が感じている痛みを数字で評価するための指標
	BSFS	ブリストル糞便形状スケール(Bristol Stool Form Scale)
ファブリー病	SF-36	世界で最も広く使われている自己報告式の健康状態調査票
難治性全般的重症筋無力症	MG-ADL	MGの重症度を評価する、合計点数が高いほど重症
多発性骨髄腫	BPI-SF	がん性疼痛患者において、痛みの重症度と日常生活機能に対する痛みの影響を評価する
	EORTC QLQ-C30	5つの機能的尺度(身体、役割、感情的、社会的、認知)、3つの症状尺度(疲労、吐き気、嘔吐)を含む、複数項目と単一の尺度の両方で構成
潰瘍性大腸炎	IBDQ	腸症状(軟便、腹痛)、全身症状(疲労、睡眠パターンの変化)、社会的機能(勤怠)の4つの側面にわたって患者の報告結果を評価する
糖尿病黄斑浮腫	VFQ-25	一般的な健康領域に対する視覚障害と視覚症状の影響を測定
ボンベ病	EQ-5D-5L	全体的な健康状態の評価を記録する垂直方向の視覚的アナログスケール
シェーグレン症候群	SSSD	シェーグレン症候群の症状に関する5つ(女性の場合は6つ)の質問で構成
アトピー性皮膚炎	DLQI	参加者の生活の質に対する皮膚疾患の影響を測定する10項目のアンケート
片頭痛	PGI-S	患者自身の病気の重症度に関する全体的な印象を測定する患者評価の手段
重症喘息	ACQ-IA	喘息コントロール状態を評価する指標の1つ、6項目の評価
網膜静脈分枝閉塞症	NEI-VFQ-25	視覚関連の生活の質(QoL)に関する患者の主観的な評価を測定
サルコイドーシス	SF-36	アンケートを使用した一般的なQOLの測定
ピルビン酸キナーゼ欠乏症	PKDIA	日常生活活動に対するPK欠乏症の一般的な影響を示す12項目
散発性封入体筋炎	sIFA	散発性封入体筋炎(sIBM)身体機能評価(sIFA)
頭頸部新生物	GHS/QoL	5つの機能的側面(身体、役割、感情的、認知的、社会的)と3つの症状項目(疲労、吐き気)を測定
乾癬	DLQI	症状と感情、日常活動、余暇、仕事と学校、人間関係、治療を含む6つの領域をカバー
過体重	IWQOL-Lite-CT	生活の質(HRQoL)に対する体重変化の影響を評価する
片頭痛	PGI-S	患者自身の病気の重症度に関する全体的な印象を測定する患者評価
	MIDAS	3か月にわたる頭痛関連の障害を定量化するために設計された、参加者が評価するスケール
	MSQ	片頭痛特有の生活の質に関する質問書
	PSMQ-M	治療薬に対する参加者の満足度を測定する自己評価尺度
統合失調症	PRECIS	統合失調症に伴う認知障害(CIAS)の患者の主観的な経験を記録
血栓性血小板減少性紫斑病	cTTP特異的患者報告アウトカム	過去24時間の疲労、関節、筋肉、腹痛、胸痛、神経症状、打撲、過去7日間の抑うつ感や気分の変化、活動制限、過去2週間に受けたTTP治療に関連する患者の態度、経験した副作用、仕事/学校の欠席、旅行への影響。
クッシング病	BDI-II	13歳以上の成人および青少年のうつ病の重症度を測定するために開発された患者報告の測定
	EQ-5D-5L	臨床的および経済的評価のためのシンプルで一般的な健康状態の標準化された指標

出所：臨床試験登録データベース Clinical Trials.gov を基に医薬産業政策研究所にて作成

国内phase3で用いられていたPRO評価指標の事例をみると、多岐にわたる疾患で、また様々な評価指標による評価が行われていた。

疾患に限定した内容ではなく健康について万人に共通した概念のもとに構成されるSF-36や痛みを数値で評価できるNRS³⁶、QOLを評価するEQ-5D等を用いている場合もあるが、疾患特有の患者報告アウトカム評価に適したツールが用いられているケースもある。

例えば多発性骨髄腫等のがんでは、5つの機能的尺度(身体、役割、感情的、社会的、認知)と3つの症状尺度(疲労、吐き気、嘔吐)を評価している。また潰瘍性大腸炎では全身症状(疲労、睡眠パターンの変化)、社会的機能(勤怠)、乾癬では感情、日常活動、余暇、仕事と学校、人間関係といった有効性や安全性にとどまらない医薬品による波及的な効用を含めて評価している。

これらからは主要評価項目³⁷にはなりにくくも副次的評価項目となるもの、審査報告書におさまらない側面も含めて有効性や安全性等以外の価値の評価がなされていることがわかった。

片頭痛では治療薬に対する参加者の満足度を測定する自己評価も行われておりこうした評価ツールでは、患者の困りごとへの解消に医薬品がどの程度貢献しているかも臨床試験内で評価されていることは、価値の多様化を把握する上で興味深い事例である。

³⁶ Numerical Rating Scale の略

³⁷ 主要評価項目は、その試験で最も明らかにしたい評価項目、副次評価項目は、最もではないが明らかにしたい評価項目とされる。

表 10 薬価収載までに PRO 評価指標を用いて評価された価値エビデンス事例と収載時薬価

モダリティ	適応疾患	品目名	アウトカムツール	概要（抜粋）	薬価算定方式、加算薬価	その他
抗体医薬	乾癬	トルツ皮下注	WPAI	3つの主要な第Ⅲ相試験（UNCOVER-1、UNCOVER-2、及びUNCOVER-3試験）の解析では、労働生産性に対するイクセキスマブの影響を、12週時点でのWPAI-PSO（Work Productivity and Activity Impairment-Psoriasis:仕事の生産性及び活動障害-乾癬）スコアのベースラインからの変化により評価した。3試験全てにおいて、イクセキスマブを投与した患者群は、プラセボを投与した患者群よりも、有意な労働生産性の改善を示した。	類似薬効比較方式（Ⅰ） 加算：無 薬価： 146,244円	薬価収載まで 137日
抗体医薬	尋常性乾癬、関節症性乾癬、膿疱性乾癬、乾癬性紅皮症	トテムピア皮下注	SF-36、皮膚疾患特異的QOL尺度、EQ-5D	・患者報告アウトカムの評価結果では、16週の皮膚疾患特異的QOL尺度（DLQI）スコア、EuroQOL visual analogue scale（EQ VAS）スコア及びEuroQOL 5項目質問票（EQ-5D）スコアのベースラインからの変化量は、それぞれプラセボ群と比較していずれの本剤群でも有意に大きく改善し、本剤100mg群と200mg群で同程度のQOL改善が認められた。	類似薬効比較方式（Ⅰ） 加算：無 薬価： 319,130円	外国価格調整：引き上げ
抗体医薬	片頭痛	エムガルティ皮下注	WPAI	2～4種類の他剤で効果不十分な片頭痛患者（反復性/慢性）を対象とした多施設共同無作為化二重盲検プラセボ対照国際共同第Ⅲ相「CGAW/CONQUER試験」では、「仕事の生産性および活動障害に関する質問票（WPAI）」に及ぼす影響に関しては、「労働量の低下（フレゼンティズム）」「労働時間の損失（アブゼンティズム）」「全体的な労働の障害」および「日常生活の障害」いずれにおいてもエムガルティ120mg群はプラセボ群に比べ有意な改善を示した。	原価計算方式 加算：無 薬価： 45,165円	外国価格調整：引き上げ
抗体医薬	全身型重症筋無力症	ウィガート点滴静注	MG-QoL15r	gMG患者に対して、エムガルチギモド 10 mg/kg を週 1 回計 4 回、1 時間かけて静脈内投与する治療サイクルにより投与したとき、統計的に有意かつ臨床的に意味のある症状及びQOLの改善が認められ、有効性が証明された。	原価計算方式 加算：15% 加算率：0 （開示度 50%未満） 薬価： 421,455円	有用性加算（Ⅱ）A=5% （新規作用機序） 市場性加算（Ⅰ）A=10%
抗体医薬	潰瘍性大腸炎	オンボ点滴静注	NRS	●12週時点の便意切迫感に関するNRSスコア注）のベースラインからの変化量（重要な副次評価項目） ●2、4、8週時点の便意切迫感に関するNRSスコア注）のベースラインからの変化量（その他の副次評価項目） 重要な副次評価項目である12週時点の便意切迫感に関するNRSスコアのベースラインからの変化量（最小二乗平均値）は、オンボ点滴静注300mg群では-2.59であり、プラセボ群の-1.63と比較して統計学的有意に低下したことが示された。	類似薬効比較方式（Ⅰ） 加算：無 薬価： 192,332円	

注：いずれも新有効成分含有新医薬品

出所：プレスリリース、審査報告書、申請資料概要、中医協資料など公表資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.3.1.6 薬価収載までに PRO 評価指標を用いて評価された価値エビデンス創出事例と薬価の概要

表 10 に NME として 2016 年度以降に薬価収載された新薬の中から、薬価収載までに PRO 評価指標を用いて評価された価値エビデンス創出事例と収載時の薬価算定の概要として、薬価算定方式や加算の有無、薬価、外国平均価格調整等をまとめている。乾癬や片頭痛では QOL、労働生産性の向上、重症筋無力症では臨床症状に加えて QOL の改善を示していたが、いずれも有用性系の加算はついておらず現状の薬価制度においては加算にはつながりにくいことが推察される。

薬価算定における価値評価は、加算による評価だけではない。しかしながら臨床試験においてあらかじめ設定された重要な副次的評価項目において患者 QOL の向上などの改善が示された場合であっても、現時点では評価の対象となりにくい状況にあることが、中医協でも示されていた。2024 年度薬価制度改革において有用性系加算等の評価項目に「患者 QOL の向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比した改善が示される」ことが追加されており、患者 QOL の評価への有用性加算による評価の部分的改善の方向にあり、前進が見られた点では今後に期待がなされる。

2.3.1.7 小括：PRO の最新動向-臨床試験登録データベースを用いた調査・分析-

PRO 関連臨床試験数の推移では、わが国の PRO 関連臨床試験数は期間を 5 年間で区切り前後で比較するとおよそ 1.6 倍に増えていた。地域別にみると米、欧、日いずれにおいても増加しており、日本の増加比は欧州や米国並みであった。しかしながら PRO 関連臨床試験数全体では、わが国は欧米に比べると依然少なく限られていると言える。

また、対象総臨床試験数に対する PRO 関連臨床試験数の割合を Phase 別にみると、Phase3 で最も多かった。Phase3 ではどのような評価指標が用いられていたか特徴的な事例を見たところ、多岐にわたる疾

患で、また様々な評価指標による評価が行われており疾患特有の患者報告アウトカム評価に適したツールが用いられているケースもあった。潰瘍性大腸炎等では全身症状(疲労、睡眠パターンの変化)、社会的機能(勤怠)、乾癬では感情、日常活動、余暇、仕事と学校、人間関係といった、有効性や安全性にとどまらない医薬品による波及的な効用を含めて評価していた。

薬価収載までに PRO 評価指標を用いて評価された価値エビデンス事例と薬価の概要でみられるように、乾癬や片頭痛では QOL、労働生産性の向上、重症筋無力症では、臨床症状に加えて QOL の改善を示している事例があったもののいずれも有用性系の加算はついておらず、現状の薬価制度においては加算はつながりにくいことが推察された。患者や家族の視点の価値エビデンスの創出が諸外国に比べて少ない点は、制度設計上加算による評価がなされないことも一因であるかもしれない。

2024 年度薬価制度改革において有用性系加算等の評価項目に「患者 QOL の向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比べた改善が示される」ことが追加され、患者 QOL の評価の部分的改善の方向にあり前進が見られた点では、今後の評価に期待がなされる。一方で、医薬品の価値エビデンスは幅が広く、新薬としての承認、収載時までに創出できないものもある点では注意が必要である。

2.3.2 フランス HAS における患者の声の収集について

2.3.2.1 HAS とは

2004年3月フランス政府によって設立された (HAS)は、独立した公的機関である。法律により政府と議会に報告する特定の任務を遂行することが義務付けられている。患者ケアの質を向上させ、医療制度内の公平性を保証する多くの活動をまとめるために設立された。政府の保健機関、国民健康保険基金、研究機関、医療従事者の組合、患者の代表と緊密に連携している。また、HAS の活動³⁸は医薬品や医療機器のプロセスの評価、ガイドラインの発行、医療機関や医師の認定まで多岐にわたる。これらはすべて厳格に習得された科学的専門知識に基づいており、そのためのトレーニングや情報提供も HAS の重要な役割である。

2.3.2.2 HAS の実施する患者アンケートについて

HAS の WEB サイトでは評価をする医薬品についてリスト化をし、患者団体などに対しアンケートの提出を呼びかけている。アンケートでは自分の病気や現在の治療をどのように感じているか、将来の治療に対する期待について意見を入手することを目的としている。そして HAS が収集したアンケート結果は、医薬品の償還を目的として検査機関から提出されたファイルを検査するために、透明性委員会 (CT³⁹)および必要に応じて経済評価公衆衛生委員会 (CEESP⁴⁰)に情報を提供するとされる。また、早期アクセスを目的とした医薬品の評価にも活用される。

実際にこうした評価に活用されたアンケートの事例として例えば **Adtralza** という医薬品では、どのような意見が述べられているかを示す。

Adtralza (一般名：トラロキヌマブ) は2021年6月に欧州及び英国で、2021年10月にカナダで、2021年12月に米国で承認された。そしてわが国では、2022年12月に承認、2023年3月に薬価収載されている。全身療法が適用となる成人患者における中等度から重度のアトピー性皮膚炎に用いられる薬剤である。(2023年9月時点、アドトラザ皮下注 150mg シリンジのインタビューフォーム)

患者アンケートには、以下のような記載があった。

- 非常に激しいかゆみと症状を引き起こすため、衰弱させる。
- 日常生活に影響を及ぼし、身体能力の低下につながる可能性のある出来事が頻繁に発生する。
- 目に見えて障害を引き起こす。
- 病気の心理的影響は測定されており、実証されている。ほとんどの人に不安や憂鬱を引き起こすことが本当の負担である。
- 主にかゆみによる肉体的および精神的疲労があり、睡眠に影響を与える。

続いて、活用された添付資料の事例として **Vyepti** という医薬品では、どのような患者の声が示されているかを示す。

Vyepti(一般名：エプチネズマブ (遺伝子組換え))は2020年2月に米国で成人の片頭痛の予防を適応として、2022年1月に欧州で4回以上片頭痛が起きる成人における片頭痛の予防を適応として、それぞれ承認されている。わが国では2024年1月現在承認されていない。

³⁸ HAS の WEB サイト <https://www.has-sante.fr>を参照

³⁹ 医学的側面からの医薬品の評価を担う。

⁴⁰ 医療経済学的な評価や公衆衛生の評価を行う専門委員会

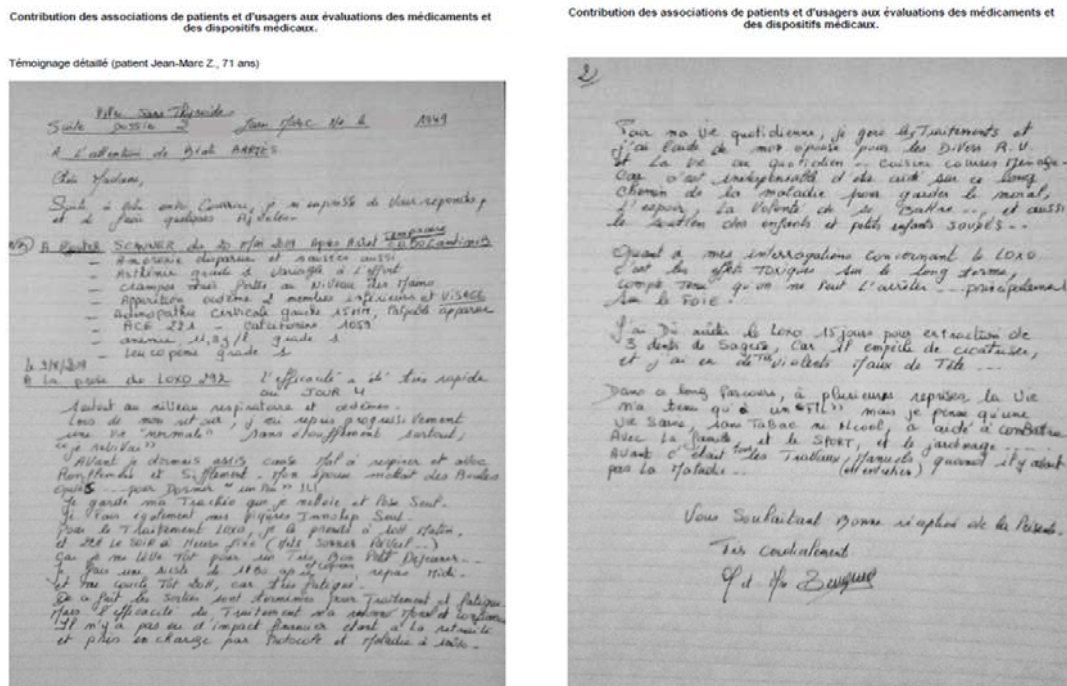
HAS 評価に用いられた VYEPTI 添付資料には、片頭痛は周囲の人々(家族、親しい友人、介護者など)にどのような影響を与えるのか記載がなされていた。家族の祝い事や外出のキャンセルなど家族全体が影響を受ける。家族の収入の減少、介護費用や関連費用など経済的な影響も挙げられている。通常成人の片頭痛患者が負うべき責任を、配偶者や時には子供が負わなければならないこともある。調査では子どもの面倒をきちんと見ていると感じている親はわずか 7%であったとされ、子どもたちの行動や生活の楽しみも影響を受けることが示されていた。また、片頭痛の目に見えない社会的・家族的影響に関する研究はあまりにも少ないことも示されていた。

さらに CT (透明性委員会) の公開されている評価報告書には、「生活の質」という患者の視点について項立てている品目もあった。「生活の質」の項立てがあった事例として、例えば RESTEVMO (一般名: セルペルカチニブ)、TAKHZYRO (一般名: ラナデルマブ (遺伝子組換え)) といった医薬品では QOL 評価尺度を用いた評価結果が掲載されていた。

そして RESTEVMO では手書きの「医薬品評価のための患者の視点アンケート」結果が、CT の評価報告書に添付されていた。(図 11) 医薬品によって倦怠感と下痢の低減がなされたこと、医薬品の副作用は中程度で寛容であること、患者ニーズと期待を満たしていること等が書かれており、患者視点の医薬品の価値が公的に収集され価値評価の議論の俎上に挙げられていることが示唆された。

フランスもわが国と同じ社会保険方式、国民皆保険制度であるとは言え、薬事承認から収載までの期間が日本より長いことや保険償還される医薬品が少ない(前述)等様々な違いがある中で単純に比較するには及ばない。しかしフランスでは、少なくとも医薬品の評価の土壌に「生活の質」を載せることが一般的となっており、また WEB サイトから患者や家族の声を広く収集する手段がある。そして、患者や家族の声を聴くことは客観性や納得性にもつながりうる点で参考となる。

図 11 患者アンケートの事例



出所: RESTEVMO の CT の評価報告書より

2.3.2.3 小括：フランス HAS における患者の声の収集について

諸外国の一事例として、フランスにおける患者の声の収集について述べてきた。フランスもわが国と同じ社会保険方式、国民皆保険制度であるとは言え様々な違いがある中で単純に比較するには及ばない。しかしフランスでは医薬品の評価の土壌に「生活の質」を載せることが一般的であり、患者や家族の声が公的に収集され、価値評価の議論の俎上に挙げられていることが示唆された。

わが国では長年薬事審査のための審査報告書に基づき医薬品の薬価を決めており、医薬品の価値を評価するための報告書等は存在しない。医薬品の革新性等を評価する加算の判断は、主に審査報告書で評価された試験成績に基づいている。よって審査報告書に記載されないデータや審査報告書に記載されていても主要評価項目以外のデータは、評価の対象とならないことが多くなっている。現行の加算の要件において、利便性等の評価項目は存在する（加算要件ハ（③-c「既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い（製剤工夫によるものを除く）」、ニ（④-a「投与時の侵襲性が著しく軽減される」）など）が、患者や家族の声が公的に収集され価値評価の議論に活かされる体系とはなっていない。

患者や家族の視点の価値の創出が十分になされていないのは、制度設計上評価がなされないことも一因であるかもしれない。

最後に HAS は、患者の代表を含めたステークホルダーと緊密に連携している。患者の代表となる方が専門知識等を習得できるようトレーニングや情報提供を担う点もわが国にとって参考となるのではないか。

2.3.3 小括

以上より、価値エビデンス創出に関する現状、問題認識としては以下の通りである。

- わが国の医薬品の価値エビデンス創出は限られている。
 - ▶ 欧米に比べると PRO 関連臨床試験数が依然少なく患者視点の価値エビデンス創出が限られている。
 - ▶ 薬価収載までに乾癬や片頭痛では QOL、労働生産性の向上、重症筋無力症では臨床症状に加えて QOL の改善といった PRO 評価指標を用いて評価された価値エビデンスも存在するが、現行の薬価制度では有用性系加算にはつながりにくい実態がある。
 - ▶ フランス（HAS）では医薬品の評価の土壌に「生活の質」を載せることが一般的であり、患者や家族の声が公的に収集され、価値評価の議論の俎上に挙げられていることが示唆された。

国民に多様な価値が届き続けるにはより幅広い価値エビデンス創出が重要となるが、わが国の医薬品の価値エビデンス創出においては、患者や家族の声を生かした最大限の価値エビデンス創出ができていない。

2.4 医薬品の価値等への国民の理解と PPI の現状と問題認識

薬価や薬価制度を国民が納得する上で、国民の医薬品の価値への理解や参画のあり方が重要であることが示唆される。本章では、革新的な新薬の多様な価値が国民に届き続ける好循環がまわるために必要な医薬品の価値等への国民の理解と PPI について現状と問題認識を述べる。

まず国民の理解の現状として、医薬品の価格や制度への国民の意識・興味関心の現状と重視する医薬品の価値について、医薬産業政策研究所で実施した医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果より示す。

加えてわが国でも近年盛んになりつつある PPI の最新動向について、研究や開発段階におけるレイサマリーの標準化に向けた動き、研究や開発段階だけでなく製薬各社を中心に加速する様々な取り組みについて示す。また諸外国の現状として、PPI の先進国である英国 NICE における患者・市民の参画の特徴等についても示す。

2.4.1 国民の医薬品の価格や制度への意識や興味関心、重視する医薬品の価値

国民は医薬品の価値の享受者であり、また、皆保険制度で成り立つわが国の医療保険制度上、制度を支える者でもある。『国民皆保険の持続性』と『イノベーションの推進』の両立を図る上では医薬品の価格や制度、価値の検討に「国民の視点」は欠かせない。

これまでも生活者や患者への医療や医薬品に関する意識調査はいくつか実施⁴¹されているが、医薬品の価格や制度（受診時医療、医薬品に係る薬価や医療保険制度等）、価値について特徴ある属性ごとの分析には至っていないとの認識である。そこで国民の医薬品の価格や制度、価値に関する意識や興味関心の実態を様々な属性ごとに把握する目的で、Web アンケート調査を実施した。

本稿では、この調査結果より明らかとなった国民の医薬品の価格や制度への意識や興味関心、国民が重視する医薬品の価値について示す。

2.4.1.1 調査方法

Web アンケート調査は、以下の方法で実施した。なお、回答者がインターネットを使用できる人に限定される等、調査の特性として限界があることを事前に提示しておく。

- ①調査地域：全国 47 都道府県
- ②対象：20 歳以上の男女
- ③回答者数：2,118 人
- ④抽出方法：インターネット調査用パネルより層別無作為抽出
- ⑤調査方法：インターネット調査
- ⑥調査期間：2022 年 6 月 20 日～22 日
- ⑦調査機関：株式会社インテージヘルスケア

※調査サンプル（地域、年齢、性別）は、全国の人口構成比にできる限り合わせて、回収した。

⁴¹ 日本医師会総合政策研究機構、「日本の医療に関する意識調査 2022 年臨時中間調査」日医総研ワーキングペーパー No.466（2022 年 5 月 24 日）や厚生労働省、「2019 年社会保障に関する意識調査」（2021 年 11 月）、日本医療政策機構、「2019 年 日本の医療に関する世論調査」（2019 年 9 月 17 日）、健康保険組合連会「医療・医療保険制度に関する国民意識調査」（2017 年 10 月）等

2.4.1.2 回答者の属性 (表 11)

表 11 回答者の属性

属性		内訳 (人)	割合
性別	男性	1,016	48.0%
	女性	1,102	52.0%
年代	20~29歳	232	11.0%
	30~39歳	270	12.7%
	40~49歳	366	17.3%
	50~59歳	365	17.2%
	60~69歳	323	15.3%
	70歳以上	562	26.5%
職業	会社員	512	24.2%
	会社役員・管理職	81	3.8%
	公務員・団体職員	120	5.7%
	自営業	76	3.6%
	自由業・専門職	43	2.0%
	派遣・契約社員	107	5.1%
	パート・アルバイト	309	14.6%
	学生	32	1.5%
	専業主婦・専業主夫	408	19.3%
	無職	404	19.1%
	その他	26	1.2%
居住エリア	北海道	91	4.3%
	東北	145	6.8%
	関東	131	6.2%
	京浜/一都三県	617	29.1%
	北陸	123	5.8%
	東海	239	11.3%
	京阪神	350	16.5%
	中国	125	5.9%
	四国	64	3.0%
	九州	233	11.0%
最終学歴	中学校卒業	58	2.7%
	高等学校卒業	759	35.8%
	専門学校・高専卒業	289	13.6%
	短期大学卒業	209	9.9%
	4年制大学卒業	656	31.0%
	6年制大学卒業	11	0.5%
	大学院修了	67	3.2%
	その他	6	0.3%
	答えたくない	63	3.0%

属性		内訳	割合
介護が必要な家族の有無	自分が主に介護している家族がいる	121	5.7%
	主な介護者ではないが、同居家族に介護が必要な人がいる	92	4.3%
	主な介護者でもなく、同居していない家族に介護が必要な人がいる、または施設にいない	1,754	82.8%
最近1年間の医療費負担額	0円	178	8.4%
	5千円未満	214	10.1%
	5千円以上~1万円未満	323	15.3%
	1万円以上~5万円未満	725	34.2%
	5万円以上~10万円未満	355	16.8%
	10万円以上	323	15.3%
医療費負担感	とても負担に感じている	210	9.9%
	負担に感じている	389	18.4%
	やや負担に感じている	770	36.4%
	あまり負担に感じている	581	27.4%
	負担に感じていない	102	4.8%
世帯年収	まったく負担に感じていない	66	3.1%
	200万円未満	189	8.9%
	200万円以上~400万円未満	462	21.8%
	400万円以上~600万円未満	356	16.8%
	600万円以上~800万円未満	191	9.0%
	800万円以上~1000万円未満	126	5.9%
自覚健康度 (現在の健康状態)	1000万円以上	120	5.7%
	分からない/答えたくない	674	31.8%
	とても健康	91	4.3%
	健康	423	20.0%
	どちらかといえば健康	1,111	52.5%
現在の受診・疾患	どちらかといえば健康ではない	322	15.2%
	健康ではない	124	5.9%
	まったく健康ではない	47	2.2%
	現在の受診・疾患有	1,173	55.4%
現在の受診・疾患無	945	44.6%	

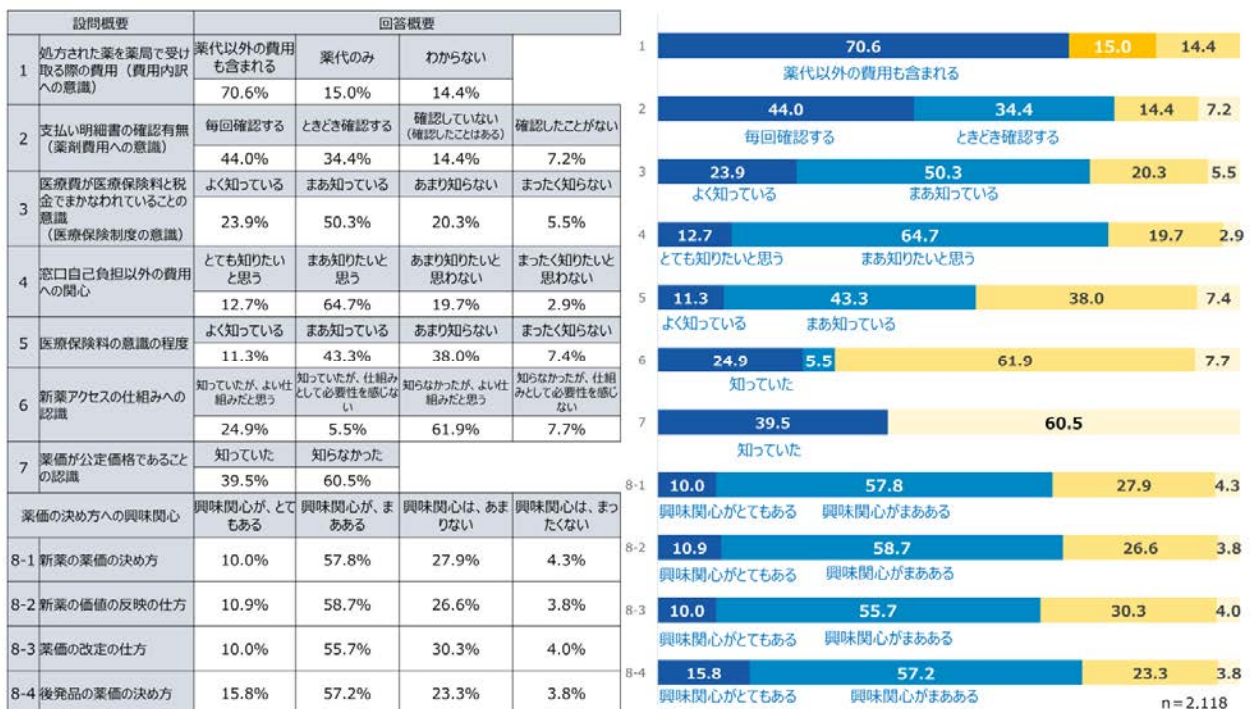
n = 2,118

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.1.3 調査結果：医薬品の価格や制度への国民の意識・興味関心

本項では図表 8 に示した結果概要について、主だった設問ごとに記載する。

図表 8 調査結果の概要



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

『処方された薬を薬局で受け取る際の費用』：「薬代以外の費用も含まれる」が約7割、「薬代のみ」「わからない」が約3割

まず医薬品の価格に対する意識を紐解くため、調剤薬局での支払い時为例にその費用内訳にどのような意識を持っているかを尋ねた。その結果、医療機関を受診し処方された薬を薬局で受け取る際に支払う金額について、「薬代以外の費用も含まれる」が70.6%と最も高く、次いで「薬代のみ」が15.0%、「わからない」が14.4%だった。約7割の回答者が支払う金額が薬代だけではないと回答し、費用内訳への意識が高いことが示唆された。

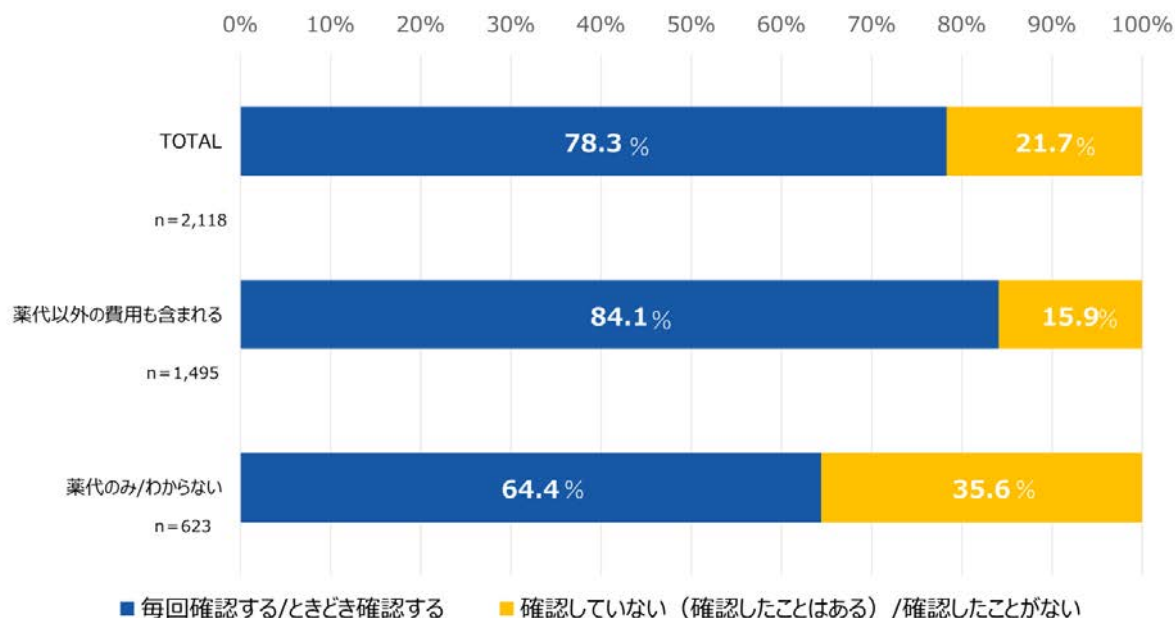
『支払い明細書の確認有無』：「毎回確認する」「ときどき確認する」が約8割、そのうち「毎回確認する」は半数に満たない

本設問でも調剤薬局での支払い時为例に、支払い明細書の確認状況について尋ねた。支払い明細書は技術料、薬剤料等の区分や薬剤名が単価・数量とともに記載されるもので、保険薬局での発行が完全義務化されている。調査の結果、医療機関を受診し処方された薬を薬局で受け取る際支払い額の明細書を「毎回確認する」が44.0%と最も高く、「ときどき確認する」34.4%と合わせて回答者の約8割（78.4%）が費用内訳への意識が高いことがわかった。

また、費用内訳への意識が高い集団と低い集団で薬剤費用への意識を比べると、費用内訳への意識が高い集団の方が支払い明細書を確認している割合が高く、薬剤費用への意識が高いことがわかった。

(図12)

図12 処方された薬を薬局で受け取る際の費用と支払明細書の確認



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

約 2 割の回答者が支払い明細書を確認しない理由（複数回答）：「理解が難しい」ことや「意義や必要性の理解が不十分である」ことが挙げられる

次に約 2 割の回答者（「確認していない（確認したことはある）」もしくは「確認したことがない」と回答した 21.7%）が支払い明細書を確認しない理由を尋ねている。回答割合の高い順に「見ても理解ができないと思った（書かれる内容がわからなかった）」が 34.9%、「見たところで自身に影響がなく、見ても仕方がないと感じる」が 28.1%、「いつも同じ価格であるため、確認する必要性を感じない」が 20.5%、「薬の名前や量は薬手帳で確認しているから、それ以外の情報は必要ない」が 15.5%、「記載している内容の説明がないので、見たいとは思わない」が 12.5%、「文字が小さく見えにくいから」は 5.0%であった。

支払い明細書を確認する機会が増えるきっかけ（複数回答）：「自身の処方に変化があったとき」が 5 割強、次いで「説明や理解ができるようになった時」が挙げられる

次に全回答者に対し「どのようなことがあれば、あなたは、今よりも支払い明細書を確認する機会が増えると思うか」を尋ねると、「あなたの処方（薬を受け取る機会や種類、量、支払額）に変化があったとき」が 53.4%と最も高く、次いで「支払い明細書の中身や見方に付いて説明があった、もしくは理解ができるようになったとき」が 33.5%、「支払い明細書の記載方法（今よりわかりやすい、大きい等）に変化があったとき」が 32.8%、「今より増えることはない」16.4%となっていた。

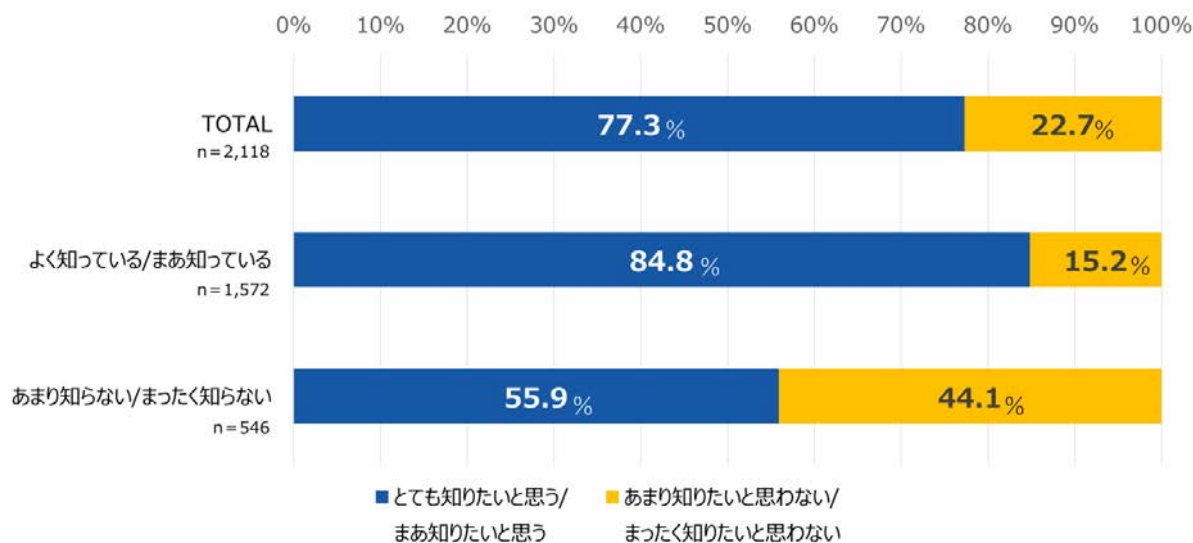
『医療費が医療保険料と税金でまかなわれていることの意識』：「よく知っている」「まあ知っている」が 7 割強、そのうち「よく知っている」は 2 割強

次に医薬品の価格に対する意識を医療保険制度の観点から紐解くため、調剤薬局窓口での支払い以外の費用への意識を尋ねた。その結果、医療機関で処方された薬を薬局で受け取る際にあなたが支払う額（自己負担）以外の費用が「医療保険料（健康保険制度、国民健康保険制度など）と税金でまかなわれている」ことについて「まあ知っている」が 50.3%と最も高く、次いで「よく知っている」23.9%と合わせて 7 割強（74.2%）が医療保険制度の意識があることがわかった。

『窓口自己負担以外の費用への関心』：「とても知りたい」「まあ知りたい」が約 8 割、そのうち「とても知りたい」は 1 割強

前設問の内容（医療機関を受診した際や、医療機関で処方された薬を薬局で受け取る際に、あなたが支払う額（自己負担）以外の費用が、どのようにまかなわれているか）について今よりも知りたいかを尋ねると「まあ知りたいと思う」が 64.7%と最も高く、「とても知りたいと思う」12.7%と、合わせて約 8 割（77.4%）が窓口での自己負担以外の費用に関心があることがわかった。また医療保険制度の意識が高い集団では自己負担以外の費用の関心の割合が高く（84.8%）、意識が高いと関心も高いことが示唆された。（図 13）

図 13 医療費が医療保険料と税金でまかなわれていることの意識と窓口自己負担以外の費用への関心



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

『医療保険料がどの程度か』：「よく知っている」「まあ知っている」が 5 割強、そのうち「よく知っている」は 1 割強

本設問ではあなた自身が医療保険料をどの程度納めているか（自分や家族の給与に対し、どの程度（割合、金額）の医療保険料を支払っているか）について尋ねた。「まあ知っている」が 43.3%と最も高く、「よく知っている」11.3%と合わせて 5 割強（54.6%）が、医療保険料の自己負担額に意識があることがわかった。

『新薬アクセスの仕組みへの認識』：「知らなかった」が約 7 割

次に医薬品の価格や制度に対する意識を紐解くため、薬価制度についてどのような認識がなされているかを尋ねた。日本では承認されたほぼ全ての新薬が早期に保険で使えるようになることについて、「知らなかったが、よい仕組みだと思う」が 61.9%と最も高く、次いで「知っていたが、よい仕組みだと思う」が 24.9%、「知らなかったが、仕組みとして必要性を感じない」が 7.7%、「知っていたが、仕組みとして必要性を感じない」5.5%となっていた。回答者の約 7 割（69.6%）が、新薬アクセスの仕組みを認識していないことがわかった。

『薬価が公定価格であることの認識』：「知らなかった」が約 6 割

本設問では日本では薬価は「公定価格であり、個々の企業ではなく国が決める」ということについて尋ねており、その結果「知らなかった」が 60.5%、「知っていた」が 39.5%となっていた。回答者の約 6 割は薬価が公定価格であることを認識していないことがわかった。

『薬価の決め方への興味関心』:「興味関心が、とてもある」「まあある」が約 7 割、そのうち「興味関心が、とてもある」は 1 割程度

新薬の薬価の決め方、新薬の価値の反映の仕方、薬価の改定の仕方、後発品の薬価の決め方を設問として、薬価の決め方への興味関心を尋ねた。4 つの設問では約 7 割が興味関心を示していることがわかった。新薬の薬価の決め方、新薬の価値の反映の仕方の結果を示す。

『新薬の薬価の決め方への興味関心』

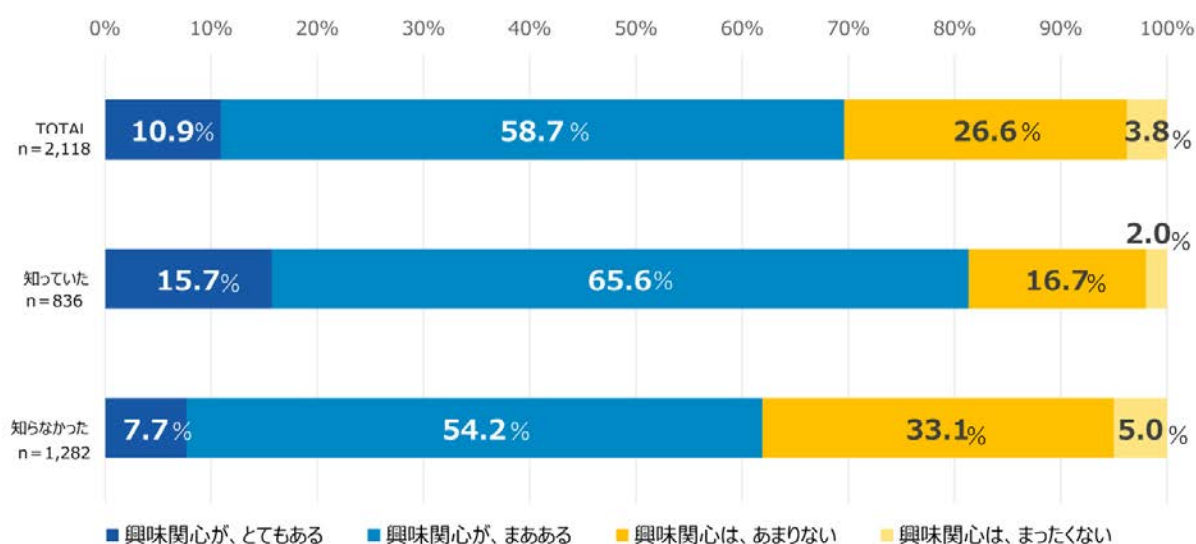
「興味関心が、まあある」が 57.8%と最も高く「興味関心が、とてもある」10%と合わせて約 7 割 (67.8%) が、「新薬の薬価の決め方」に興味関心があることがわかった。

『新薬の価値の反映の仕方への興味関心』

「興味関心が、まあある」が 58.7%と最も高く、「興味関心が、とてもある」10.9%と合わせて約 7 割 (69.6%) が、新薬の価値の反映の仕方に興味関心があることがわかった。

また薬価が「公定価格であり、個々の企業ではなく国が決める」ということについて「知っていた」集団の方が、薬価の決め方に興味関心があるという結果も見られた。図 14 には「新薬の価値の反映の仕方」を例に示すが「新薬の薬価の決め方」、「薬価の改定の仕方」、「後発品の薬価の決め方」においても同様の傾向を示した。

図 14 薬価の決め方の認知と興味関心



出所:「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

7 割強の回答者が、薬価の決め方を今より知りたいと思う理由（複数回答）：「薬の価値がどう評価されるのか、単純に興味がある」が約4割

次に薬価の決め方について今より知りたいか尋ねた設問で、知りたい（「とても知りたいと思う」、「まあ知りたいと思う」合わせて74.2%）とした7割強の回答者にその理由を尋ねている。回答割合の多い順に「国民負担（自己負担額等）の軽減がなされているか知りたいから」が41.6%、「薬の価値がどう評価されるのか、単純に興味があるから」が37.6%、「皆保険で賄われる薬の価格だから、国民皆保険の持続性の観点で、国民の一人として自分事ではなければならないと思うから」が37.4%、「どのように決まるのかを知れば、より自分の意志を持って医療を受けることができると思うから」が36.3%、「国民の命や健康に貢献する新薬（先発品）の創出が促される仕組みとなっているか知りたいから」が31.1%、「薬を飲む機会が増えた/これから薬を飲む機会が増えると思うから、知っておきたい」が29.5%、「コロナの流行で、より医療や薬の重要性を意識するようになったため」が22.0%であった。

3 割弱の回答者が、薬価の決め方を今より知りたいと思わない理由（複数回答）：「薬について、そもそもあまり知らない」が2割強

続いて薬価の決め方について、今より知りたいか尋ねた設問で知りたくない（「あまり知りたいと思わない」、「まったく知りたいと思わない」合わせて25.8%）とした3割強の回答者にその理由を尋ねている。回答割合の多い順に、「決められ方を知っても、自分の意見を反映できるわけではないと思うから」が40.6%、「薬について、そもそもあまり知らないから」が24.5%、「薬は医師が処方するため、決め方を知っても、自分にメリットがなさそうだから」が24.3%、「今のように、国が決めてくればよいと思うから」が21.2%、「薬価がどのように決められるかよりも、まずは薬の一般的な知識や正しい情報を得たいから」が18.3%、「薬そのものに関心が高くないから」が15.4%、「薬を処方されたり、服用する機会が少ないから」が13.7%であった。

2.4.1.4 小括：医薬品の価格や制度への国民の意識・興味関心

「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」の結果より、医薬品の価格や制度への意識や興味関心についてみてきた。薬価が公定価格であること等の認識については4割と十分とは言えないものの、意識や興味関心の程度は概ね7割と、高いと言える。一方で「とても」や「よく」といった、意識や興味関心が最も高い回答を選択している人は少ない傾向が見られた点で、課題があると言える。

支払い明細書を確認する理由からは、多くは費用の内訳や薬の種類（名前や先発品、後発品の違い）、量の把握のために確認しており、費用内訳等に興味関心を示していることがわかった。一方で、記載内容の理解ができないことが支払い明細書を確認しない理由になっている場合があり、説明や中身の理解ができるようになれば支払い明細書を確認するきっかけとなり意識が高まる可能性が示された。自らの意志で確認したいと思っていない（興味はないが何となく目を通して、確認するように言われた）人も含め、説明やそれを基にした理解が促進されることの重要性が浮き彫りとなった。また、自身の処方（薬を受け取る機会や種類、量、支払額）に変化があったときに、より支払い明細書を確認するきっかけとなる最大割合であったことから、現在は医療への関りの少ない主には低年代でも、医療への関りの増加が意識や興味関心を高める可能性も示された。意識や興味関心が高まる起点の一つには、自身の

「理解」が深まることや「医療への関り」の増加があることが明らかになったと言えよう。そして図 12、図 13、図 14 で示されたように費用内訳への意識が高い方が薬剤費用への意識が高く医療保険制度の意識が高い方が自己負担以外の費用に関心があり薬価が公定価格であることについて知っている方が、薬価の決め方に興味関心があった。すなわち価格や制度への意識や興味関心が高い人がさらに知りたい等の興味関心が高かったことから、価格や制度の知識や認識などを増やすことにより意識が高まる可能性を期待するものであった。

2.4.1.5 調査結果：国民が重視する医薬品の価値

医薬品の価値の要素については、政策研ニュース No.62、63 等⁴²、中野らの報告で用いられた要素（ISPOR の Task force レポート等⁴³を踏まえ、中野らが検討・抽出）や、日本製薬工業協会会長会見資料⁴⁴（2019 年 6 月）を参考にし、著者が検討・抽出、設定した。（図 15）

効果の高さである「有効性」、安全性が高く、副作用が少ないといった「安全性」、治療のすべがなかったものが新たに治療できる「革新性」、例えば手術でなくても治療ができるといった「治療方法の改善」、服用回数の少なさや飲みやすさ等の「利便性」、これまでより安いことやこれまでと同程度の医療費負担額等のような「経済性」、これら 6 つの価値要素は医薬品の服用などの使用が自身に直接影響しやすく直接感じられやすい価値であり、「医療的な価値」として定義する。一方でその薬の効果の発揮しやすい人を特定し投与（治療）できる「適切な患者への投与」や、仕事や家事・学業、介護や世話等、自身の役目を継続できるもしくは自身の役目の質・効率を高められる「生産性」、これまでできなかった、学校に行ける、家事や仕事等ができるといったような「社会復帰・復職」、介護・ケアをしてくれる家族等の負担を軽減できる「介護負担の軽減」、医師や看護師、薬剤師等の負担を軽減できる「医療従事者の負担軽減」これら 5 つの価値要素は、医薬品の服用などの使用が自身やその周囲に波及的に影響をもたらすその価値が社会にも影響しうる価値であり、これらを医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」と定義する。

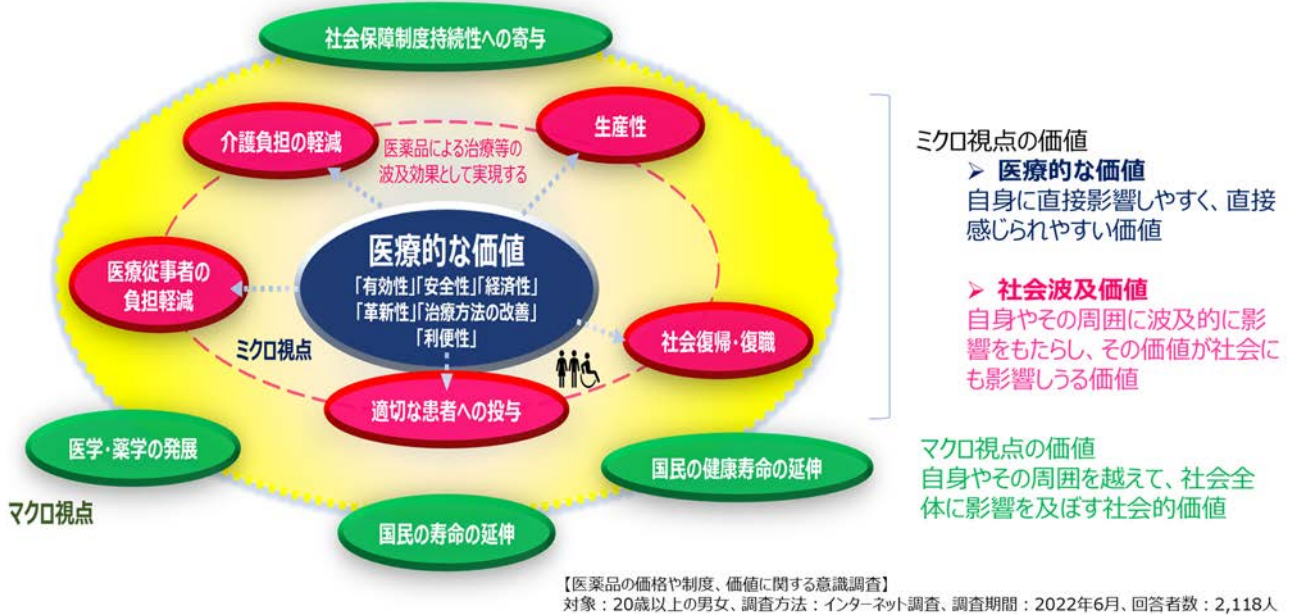
なお、「医療的な価値」と「社会波及価値」は「ミクロ視点の価値」と定義する。また、経済・社会を支える人を増やすあるいは医療資源消費の効率化に繋がる「社会保障制度持続性への寄与」や、人々の命がある期間を延長できる「国民の寿命の延伸」、人々が健康上の問題で日常生活が制限されることなく生活できる期間を延長できる「国民の健康寿命の延伸」、医学や薬学という学問が進み、ひろがっていく「医学・薬学の発展」といった価値は、医薬品の服用などの使用（自身以外のものを含む）が、自身やその周囲を越えて社会全体に影響を及ぼす、医薬品の社会的な目標への貢献としての社会的価値を示すものであり「マクロ視点の価値」と定義する。

⁴² 医薬産業政策研究所、政策研ニュース No.62 「一般生活者が考える薬の価値と受診等のあり方」（2021 年 3 月）、No.63 「続：一般生活者が考える薬の価値と受診等のあり方」（2021 年 7 月）、「医薬品の多様な価値-国民視点および医療環境変化を踏まえた考察-」、リサーチペーパー・シリーズ No.79（2022 年 3 月）、「医薬品の社会的価値の多面的評価」、リサーチペーパー・シリーズ No.76（2021 年 3 月）

⁴³ Lakdawalla DN, Defining Elements of Value in Health Care-A Health Economics Approach: An ISPOR Special Task Force Report [3], Value Health. 2018 Feb;21 (2) :131-139.

⁴⁴ 日本製薬工業協会、「定例会長記者会見資料、スライド 34：医薬品によってもたらされる社会的波及効果」

図 15 医薬品の価値イメージ



出所：医薬産業政策研究所にて作成

調査結果については、自身やその周囲に関わるマイクロ視点と社会に関わるマクロ視点に、また前者（マイクロ視点）には主に医療的視点に基づく「医療的価値」と医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」があることから、これらを分けて述べていくことにする。

一般的には「有効性」や「安全性」等の「医療的価値」が、「生産性」、「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」等の「社会波及価値」より重視されることは想像に難くない。実際に調査結果でもそうした結果が得られている。しかし「あなたが、薬に対して期待する価値の項目を3つ選んでください」と、回答数を3つまでに限定した場合でも、「社会波及価値」を重視する者も一定数存在した。特に本稿では、「社会波及価値」を重視する集団は医薬品の価値を幅広く捉え、医薬品の価格や制度、価値に関して課題意識が高いことが想定されるとし、これらを重視する集団の特定ができれば医薬品の価格や制度、価値に関する諸課題に対する検討においても鍵となりうるのではないかと考えた。そこで本調査では「社会波及価値」を重視する集団がどのような特徴を持つのかを中心に分析、報告する。また健康な方に寄りやかなアンケート回答者に疾患を患ったと想起いただくことで、疾患想起の有無、想起した疾患により重視する医薬品の価値に違いがあるのか、また、実際の疾患の受診者と当該受診のない者による違い等属性ごとの特徴を分析したので合わせて報告する。

2.4.1.6 重視する医薬品の価値（マイクロ視点）

まず、回答者自身やその周囲に関わるマイクロ視点でどの価値を重視するかを把握するため「あなたが、薬に対して期待する項目」を尋ねた。重視する傾向に違いがあるかをみるため12の選択肢から、複数あるいは上位3つを選択した回答（複数回答、上位3つ回答）を得た。（表12）回答割合が高い順に並べて示す。（図16）

複数回答および上位3つ回答時のいずれの場合も重視する価値として回答割合が高い順に、「安全性」、

「有効性」、「経済性」、「治療方法の改善」、「革新性」と続いていた。複数回答時は「安全性」が 70.0%、「有効性」が 61.0%、「経済性」が 49.2%、「治療方法の改善」が 48.9%、「革新性」が 40.1%であった。「革新性」に続き、「利便性」が 39.6%、「適切な患者への投与」が 39.4%とほぼ変わらない割合を示し、「社会復帰・復職」が 27.8%、「介護負担の軽減」が 26.6%、医療従事者の負担軽減が 24.7%、「生産性」が 19.6%、「期待する項目はない」が 8.6%だった。

上位3つ回答時では「安全性」が 50.4%、「有効性」が 40.0%、「経済性」が 27.0%、「治療方法の改善」が 25.2%、「革新性」が 24.0%であった。「革新性」に続く「適切な患者への投与」が 13.6%、「利便性」が 12.4%と、その割合は 10%以上低くなっていた。また「期待する項目はない」が 8.6%、「社会復帰・復職」が 7.1%、「介護負担の軽減」が 5.9%、「医療従事者の負担軽減」が 5.1%、「生産性」が 3.8%であった。

この結果を主に医療的視点に基づく「医療的な価値」と医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」に分けて見ると、複数回答および上位3つ回答のいずれの場合も、「安全性」や「有効性」等の「医療的な価値」は「社会波及価値」より回答割合が高く、上位3つ回答時では「社会波及価値」は「医療的な価値」より回答割合が低くなる傾向があった。このことから回答者には重視される価値として「医療的な価値」がより多く選択回答される傾向が見られた。一方で「社会波及価値」に注目すると、複数回答時では2割～4割程度（19.6%～39.4%）、上位3つ回答時でも1割程度（3.8%～13.6%）が選択回答していたと言え、「社会波及価値」が一定程度選択回答されていたことは興味深い点である。そこで「社会波及価値」を重視する集団を2つに分類し、以降でその集団について分析することにした。

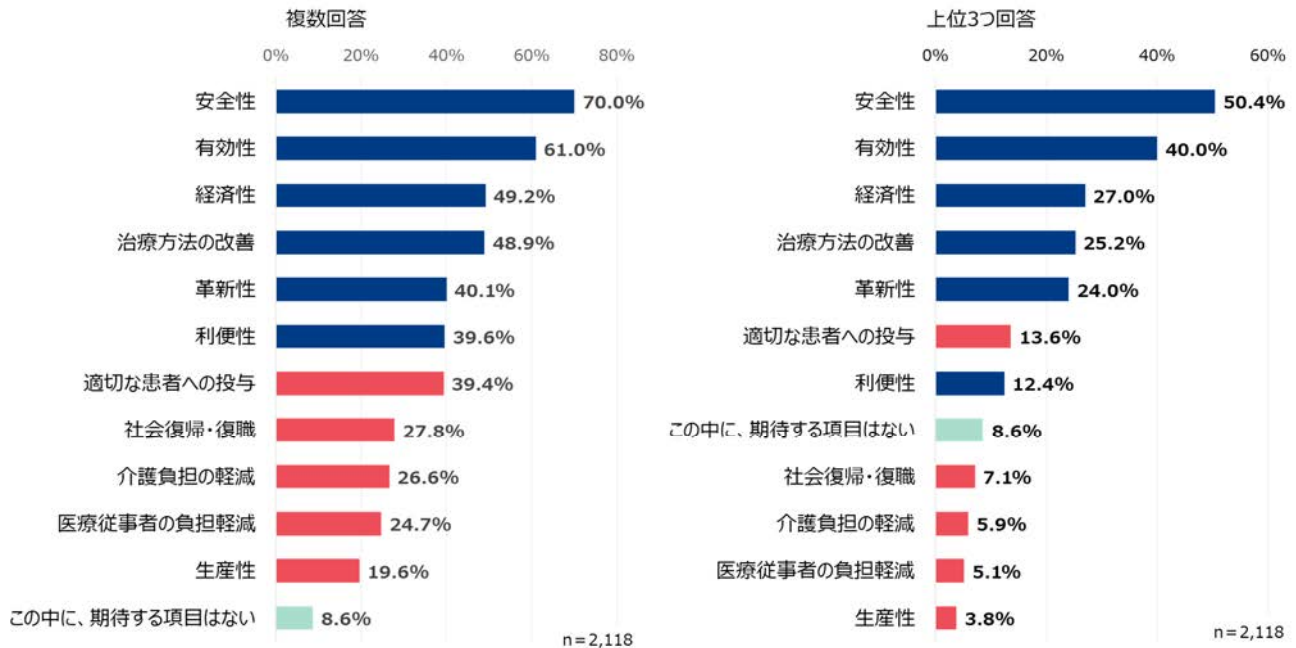
表 12 重視する医薬品の価値（マイクロ視点）：質問および回答選択肢（価値の要素）について

質問：あなたが、薬に対して期待する項目を選んでください。（期待する項目、全て/期待する項目3つまで）

回答選択肢：価値の要素	
1	有効性：（これまでより）効果が高い
2	安全性：（これまでより）安全性が高い、副作用が少ない
3	革新性：（これまで）治療のすべがなかったものが治療できる
4	治療方法の改善：例）手術でなく薬で治療できる
5	利便性：（これまでより）便利 例）服用回数が少ない、飲みやすい、等
6	経済性：（これまでより）安い、（これまでと）同程度の医療費負担額（自己負担額含む）
7	生産性：（これまでより）仕事や家事・学業、介護や世話等、自身の役目を継続できる/自身の役目の質・効率を高められる
8	社会復帰・復職：（これまでできなかった）学校に行ける、家事ができる、仕事ができる、介護や世話ができる
9	介護負担の軽減：（これまでより）介護・ケアをしてくれる家族等の負担を軽減できる
10	医療従事者の負担軽減：（これまでより）医師や看護師、薬剤師等の負担を軽減できる
11	適切な患者への投与：（これまでより）その薬の効果の発揮しやすい人を特定し投与（治療）できる
12	この中に、期待する項目はない

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図 16 重視する医薬品の価値（マイクロ視点）



注 1：「医療的な価値」を紺色で「社会波及価値」を赤色で示す。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.1.7 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析：価値ごとに見た、属性区分ごとの特徴

続いて重視する医薬品の価値について、あらかじめ区分した属性区分別（表 13）の特徴を分析した。それぞれの価値要素を被説明変数とし、選択回答した場合に 1 をとりそうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析により統計学的に有意であった属性の特徴の結果（上位 3 つ回答）を表 14 に示す。

表 13 属性の分類

属性	属性の分類	回答者（数、全体に対する割合）
性	・ 男 ・ 女	男：1,016人、48.0% 女：1,102人、52.0%
年代	・ 低年代（20代～40代） ・ 高年代（50代以上）	低年代：868人、41.0% 高年代：1,250人、59.0%
職業	・ 有職者 ・ 無職者 ・ その他	有職者：1,248人、58.9% 無職者：844人、39.8% その他：26人、1.2%
最終学歴	・ 中・高/専門・高専・短大卒（低） ・ 大学卒業/大学院修了（高） ・ その他 ・ 答えたくない	低：1,315人、62.1% 高：734人、34.7% その他：6人、0.3% 答えたくない：63人、3.0%
世帯年収	・ 600万円未満（低） ・ 600万円以上（高） ・ 分からない/答えたくない	低：1,007人、47.5% 高：437人、20.6% 分からない/答えたくない：674人、31.8%
介護の必要な家族	・ 有 ・ 無	有：364人、17.2% 無：1,754人、82.8%
現在の受診・疾患	・ 有 ・ 無	有：1,173人、55.4% 無：945人、44.6%
医療費負担額	・ 5万円未満（小） ・ 5万円以上（大）	小：1,440人、68.0% 大：678人、32.0%
医療費負担感	・ 感じていない（小） ・ 感じている（大）	小：749人、35.4% 大：1,369人、64.6%
自覚健康度 （現在の健康状態）	・ 健康（高） ・ 健康ではない（低）	高：1,625人、76.7% 低：493人、23.3%

注 1：推定モデルにおけるそれぞれの説明変数であるダミー変数（1）に下線を引いている。

注 2：職業「その他」は 0、最終学歴「その他」は 0、「答えたくない」は欠測値、世帯年収「分からない/答えたくない」は欠測値とした。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表 14 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析：価値ごとに見た、属性区分ごとの特徴

(上位3つ回答)	重視する価値の属性ごとの特徴傾向									
	性	年代	職業	最終学歴	世帯年収	介護の必要な家族	受診・疾患	医療費負担額	医療費負担感	自覚健康度
生産性							有 2.6%			
社会復帰・復職		高 2.4%	有職者 2.6%							
介護負担の軽減				低 3.3%		有 2.8%				
医療従事者の負担軽減										
適切な患者への投与							有 5.5%			

n = 1,430

注 1：価値要素を被説明変数とし、選択回答した場合に 1、そうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。

注 2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内上段に、Coef（係数）を下段に記載。

注 3：欠測値を有する方は解析から除外した。

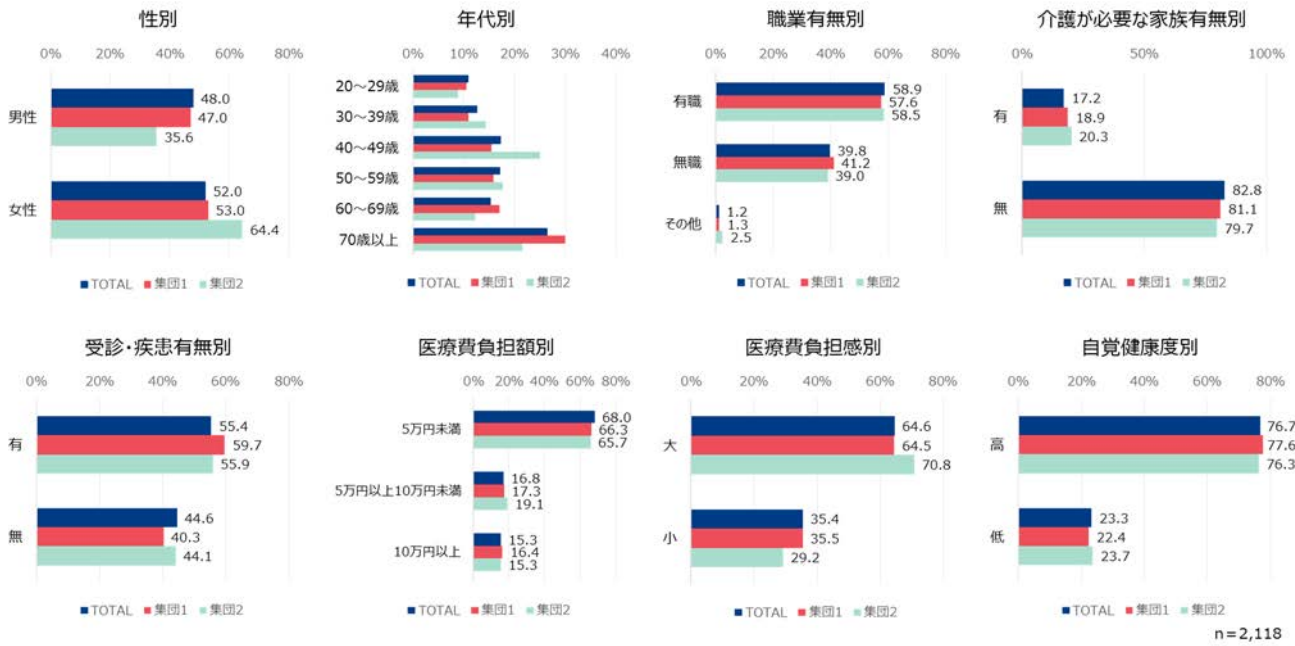
出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

主な特徴としては「生産性」、「適切な投与患者への投与」を重視していたのは「受診・疾患有」と回答した属性で、選択確率が高かった。「社会復帰・復職」を重視していたのは「高年代」、「有職者」と回答した属性で、選択確率が高かった。「介護負担の軽減」を重視していたのは「最終学歴低」、「介護の必要な家族有」と回答した属性で、選択確率が高かった。重視する価値にはいくつかの属性において違いが認められた。またその内容からは医療機関に受診中の人や、「生産性」や「適切な投与患者への投与」をより多く選択回答もしくは「有職者」が「社会復帰・復職」、「介護の必要な家族有」の人が「介護負担の軽減」をより多く選択回答したように、自身の置かれた状況により重視する価値に違いがあらわれ自身の置かれた状況に関係性の深い価値が重視されるのではないかと考えられた。

2.4.1.8 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析：集団としての主な特徴

次に「社会波及価値」要素を選択回答した 2 つの集団について、属性の特徴を分析した。集団は、複数回答時に「社会波及価値」を一度でも選択回答した人（1,032 人、48.7%、ただし「生産性」と「社会復帰・復職」と「介護負担の軽減」全てを選択回答した人は除く）を集団 1、複数回答時に、「生産性」と「社会復帰・復職」と「介護負担の軽減」全てを選択回答した人（236 人、11.1%）を集団 2 とした。集団 1 は「社会波及価値」を認知し少しでも重視する傾向がある集団、集団 2 は医薬品の服用などの使用が特に自身やその周囲に波及的影響をもたらしやすい価値を重視する傾向がある集団と想定した。属性ごとの特徴をクロス集計シグラフに示している。（図 17）また表 15 には「社会波及価値」集団を被説明変数とし、それぞれ集団を選択回答した場合に 1 をとりそうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を行った。

図 17 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析：集団としての主な特徴



集団 1：複数回答時に、「社会波及価値」を一度でも選択回答した人、ただし集団 2 を除く n=1,032

集団 2：複数回答時に、「生産性と社会復帰・復職と介護負担の軽減、すべてを選択回答した人、n=236

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表 15 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析：集団としての主な特徴

(上位3つ回答)	重視する価値の属性ごとの特徴傾向									
	性	年代	職業	最終学歴	世帯年収	介護の必要な家族	受診・疾患	医療費負担額	医療費負担感	自覚健康度
集団1	女性				低		有			高
	5.6%				7.8%		7.8%			6.9%
集団2	女性		有職者	高					大	低
	4.9%		3.7%	3.7%					3.7%	3.4%

n=1,430

注 1：集団を被説明変数とし、それぞれの集団を選択回答した場合に 1 をとり、そうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。

注 2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内上段、Coef（係数）を下段に記載。

注 3：欠測値を有する方は解析から除外した。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

まず、統計学的に有意であった属性の特徴の結果を示す。集団 1 では「女性」、「世帯年収低」、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」と回答した属性で、集団 2 では「女性」、「有職者」、「最終学歴高」、「医療費負担感大」、「自覚健康度低」と回答した属性で、選択確率が高かった。統計的有意差があった属性区分間で係数に差はあまりなかったものの、集団 1 では「世帯年収低」や「受診・疾患有」、集団 2 では「女性」が高い確率を示したことから、これらの属性ごとの特徴が影響していることが推測される。

「年代」を低年代/高年代に分けて見た場合統計的な有意差はなかったが 10 代ごとの違いをグラフで見ると集団 1 は、「20代~50代」と回答した層で全体より割合が低く、「60代以上」と回答した層で全体より割合が高かった。また集団 2 は「30~50代」、特に「40代」と回答した層で、全体より割合が高かった。

2.4.1.9 疾患想起の有無、想起疾患による違い

重視する価値やその優先度は、疾患の有無などの健康状態によっても異なってくることが想定される。

そこで次に、回答者自身やその周囲に関わるマイクロ視点の価値について、疾患想起しない場合と想起した場合、また想起疾患の種類によって重視する医薬品の価値に違いがあるのかを把握するため、回答者にQOLや精神面への影響等が異なると推測される3疾患（高血圧、関節リウマチ、がん）を患ったと想起（表16）してもらった。その上で「薬に対して期待する項目」を尋ね、2通りの回答（複数回答、上位3つ回答）を得た。その結果を複数回答上位3つ回答に分けて、回答割合が高い順に並べて示す。

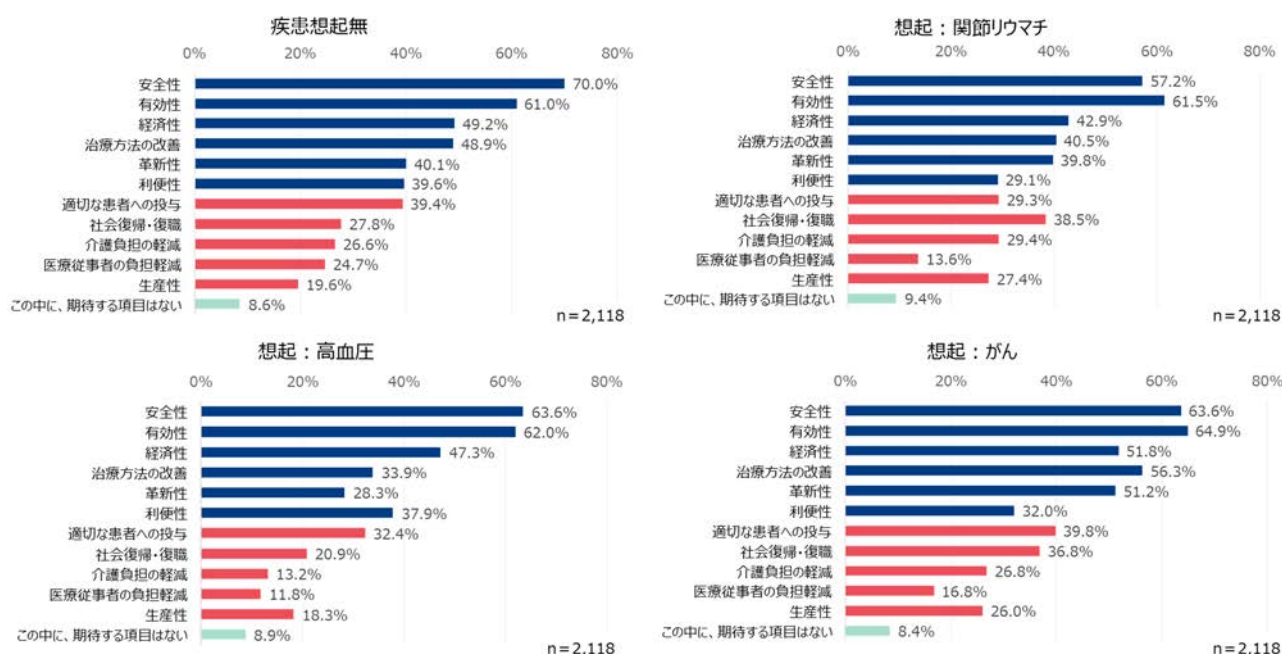
表16 3疾患（高血圧、関節リウマチ、がん）の状態に関する説明文

高血圧	関節リウマチ	がん
今は自覚症状はないものの、検査した結果、生活習慣病の高血圧と診断された。心筋梗塞など大きな病気を予防するために、薬による治療を始めることにした。	関節リウマチが発症し、命に別状はないものの、手足の関節が痛み、食事、歩行移動、トイレ、入浴などの日常生活や仕事、家事に支障が生じている。このことにより、生活の質も継続的に低下している。	がんが発症し、余命への影響、痛み、倦怠感のような身体的不具合が生じる可能性がある。現在の抗がん剤治療を使用した場合には、治療中に感染症にかかりやすくなったり、貧血・吐き気・口内炎・下痢・脱毛・皮膚の障害などの症状が副作用として現れ、日常生活あるいは仕事や家事などにも支障が生じ、場合によっては介助が必要なほど生活の質が大きく低下することが想定される。

出所：医薬産業政策研究所にて作成

まず、複数回答の結果を示す。（図18）自身について回答を得た「疾患想起無」や「高血圧」想起時では、最も回答割合が高いのは「安全性」、次いで「有効性」であったのに対し「関節リウマチ」や「がん」想起時では、「有効性」次いで「安全性」と、上位の結果が逆転していた。また「関節リウマチ」や「がん」想起時では、「疾患想起無」に比べ、「社会復帰・復職」や「介護負担の軽減」、「生産性」といった「社会波及価値」が高い割合を示したのに対し、「高血圧」ではこれらは「疾患想起無」より低い割合であった。

図18 重視する医薬品の価値（マイクロ視点）：疾患の想起の有無、想起疾患による違い（複数回答）



注1：「医療的価値」を紺色で「社会波及価値」を赤色で示す。

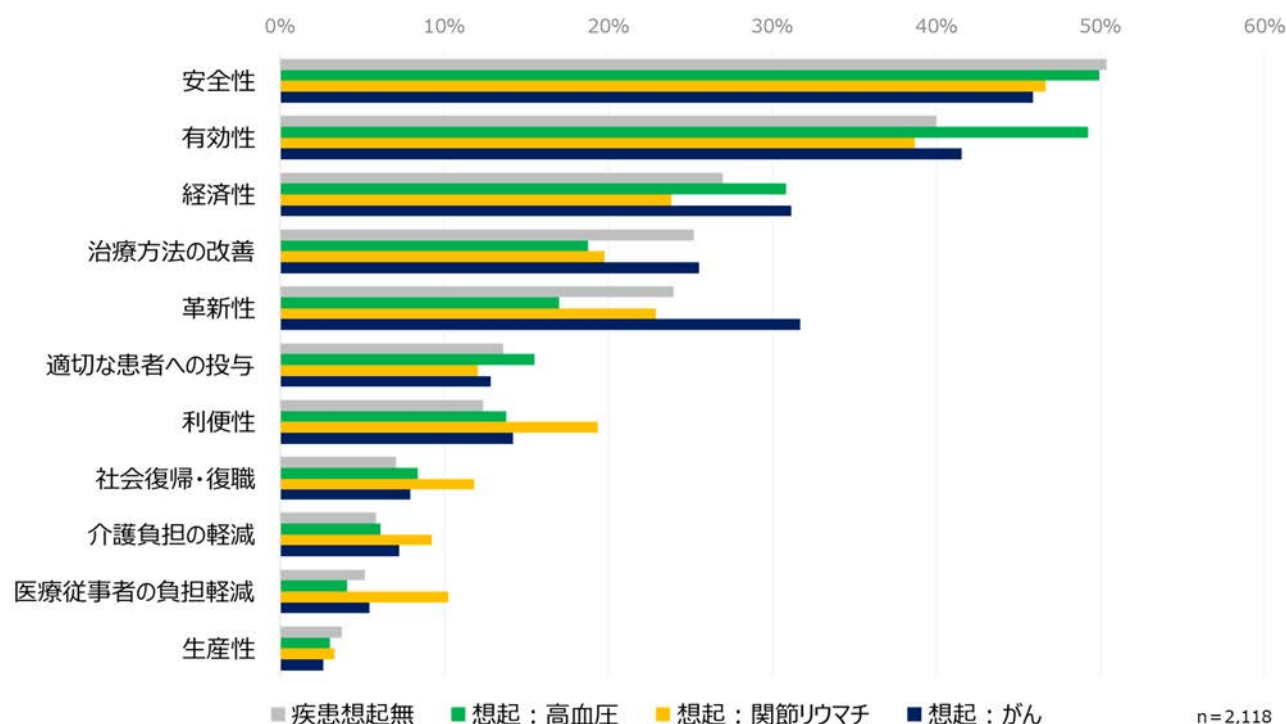
出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

続いて上位3つ回答の結果を示す。（図19）「疾患想起無」に比べ、いずれの疾患想起時も高い割合を示したものに「利便性」、「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」、いずれの疾患想起時も低い割合を示

したもの「安全性」があった。また「高血圧」想起時では、「治療方法の改善」(18.8%)や「革新性」(17.0%)が低い割合を示したのに対し、「有効性」(49.2%)や「経済性」(30.8%)が高い割合を示した。「関節リウマチ」想起時では「安全性」(46.6%)、「有効性」(49.2%)、「経済性」(23.8%)、「治療方法の改善」(19.8%)、「革新性」(22.9%)、「適切な投与患者への投与」(12.0%)が低い割合を示したのに対し、「利便性」(19.4%)や「社会復帰・復職」(11.9%)、「医療従事者への負担軽減」(10.2%)、「介護負担の軽減」(9.3%)が高い割合を示した。

「がん」想起時では「安全性」(45.9%)が低い割合を示したのに対し、「革新性」(31.7%)や「経済性」(31.2%)、「利便性」(14.2%)、「介護負担の軽減」(9.3%)、「社会復帰・復職」(7.9%)が高い割合を示した。これらの結果より、特に「関節リウマチ」や「がん」想起時では「社会復帰」、「介護負担の軽減」といった「社会波及価値」の回答割合が高まっていたことより、健康な方に寄りやかなアンケート回答者であってもQOLや精神面への影響等がある疾患を患ったと想起すると重視する医薬品の価値に違いが生じる、つまり価値観に変化があることが示された。

図 19 重視する医薬品の価値（マイクロ視点）：疾患想起の有無、想起疾患による違い（上位3つ回答）



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.1.10 主要な疾患の受診者と当該受診のない者による違い

続いて、実際に疾患があり現在受診している者と当該疾患の受診のない者では重視する価値（マイクロ視点）に違いがあるのかを分析した。ただし本調査は患者調査を主目的としていないため、受診・疾患有の回答者が限られていることから、結果の解釈には留意が必要である。

本調査における現在「受診・疾患有」の回答者は 1,173 人 (55.4%) であり、そのうちの上位 15 疾患について分析した。上位 15 疾患以外の何らかの疾患での受診者は「その他の疾患」として示す。それぞれの価値要素を被説明変数とし、価値要素を選択回答した場合に 1 をとりそうでない場合に 0、

受診疾患を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を行った。統計学的に有意であった特徴を表内に記載している。(表 17)

結果の主な特徴としては「有効性」を重視していたのは「緑内障」、「安全性」を重視していたのは「脂質異常症」、「緑内障」、「湿疹・蕁麻疹」、「革新性」を重視していたのは「がん」、「その他の疾患」、「治療方法の改善」を重視していたのは「腰痛症」、「がん」、「その他の疾患」、「利便性」を重視していたのは、「糖尿病」、「経済性」を重視していたのは「糖尿病」で受診・疾患有と回答した属性で選択確率が高く重視する傾向が示唆された。

「生産性」を重視していたのは「うつ病・うつ状態」、「その他の疾患」、「社会復帰・復職」を重視していたのは「うつ病・うつ状態」で受診・疾患有と回答した属性で、選択確率が高く、重視する傾向が示唆された。

これらの結果より実際に疾患があり、現在受診している者と当該受診のない者では重視する価値（ミクロ視点）に違いがあることが示唆された。またその内容から、疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が重視する価値やその優先度を変える可能性がある。

表 17 重視する医薬品の価値（ミクロ視点）：主要な疾患の受診者と当該受診のない者による違い

	高血圧 405人	脂質異常症 220人	アレルギー性鼻炎 149人	糖尿病 147人	腰痛症 107人	緑内障 98人	うつ病・うつ状態 84人	白内障 73人	不眠症 66人	がん 63人	痛風・高尿酸血症 54人	逆流性食道炎 53人	骨粗しょう症 48人	喘息 44人	湿疹・蕁麻疹 40人	その他の疾患 372人
有効性						高 13.8%	低 12.0%							低 13.6%		
安全性		高 12.1%				高 11.6%									高 14.3%	
革新性				低 2.4%						高 10.2%						高 4.2%
治療方法の改善				低 7.8%	高 11.9%				低 9.7%	高 13.2%						高 6.3%
利便性				高 7.5%						低 8.6%						
経済性				高 11.3%	低 13.1%											
生産性							高 6.0%									高 2.8%
社会復帰・復職						低 6.1%	高 9.2%									高 2.8%
介護負担の軽減																
医療従事者の負担軽減																
適切な患者への投与																

n=2,118

注1：それぞれの価値要素を被説明変数とし、価値要素を選択回答した場合に1をとり、そうでない場合に0、受診疾患を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。

注2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内上段、Coef（係数）を下段に記載。

注3：その他の疾患は、上位15疾患以外の何らかの疾患での受診者とした。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.1.11 重視する医薬品の価値（マクロ視点）

続いては医薬品の服用などの使用（自身以外のものを含む）が、自身やその周囲を越えて社会全体に影響を及ぼす医薬品の社会的な目標への貢献としての社会的価値の傾向をみる。

具体的には「社会保障制度持続性への寄与」、「国民の寿命の延伸」、「国民の健康寿命の延伸」、「医学・薬学の発展」の4つの価値の要素について説明を付した上で、「薬があることで実現できることとして、どの程度重要だと思うか」を尋ね、6段階（非常に重要、重要、まあ重要、あまり重要ではない、重要ではない、全く重要ではない）とわからない、の選択肢を設け回答を得た。その結果を図20に示す。

結果を重視する3回答（「非常に重要」もしくは「重要」もしくは「まあ重要」）で見ると、割合が高

い順に「医学・薬学の発展」は 88.8%、「社会保障制度持続性への寄与」は 84.8%、「国民の健康寿命の延伸」は 84.3%と 8 割以上の回答者が、「国民の寿命の延伸」は 70.0%と 7 割の回答者が重視していた。

(データ省略) しかし重視する 2 回答(「非常に重要」もしくは「重要」)で見ると割合が高い順に、「医学・薬学の発展」は 52.9%、「国民の健康寿命の延伸」は 47.9%、「社会保障制度持続性への寄与」は 43.5%、「国民の寿命の延伸」は 29.4%であり、3 割～5 割程度の回答者が重視しているという結果に留まっていた。また「わからない」回答者が、一定程度(約 6～8%)あった。

図 20 重視する医薬品の価値 (マクロ視点)

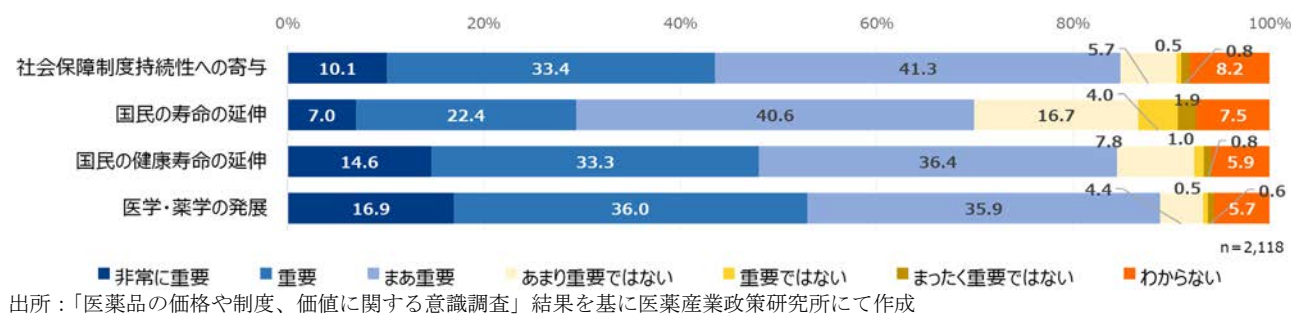


表 18 重視する医薬品の価値 (マクロ視点): 価値ごとに見た、属性区分ごとの特徴

	性	年代	職業	介護が必要な家族	最終学歴	世帯年収	医療費負担額	医療費負担感	受診・疾患	自覚健康度
社会保障制度の持続性への寄与			無職者	有	高	低	大		有	高
			7.9%	8.5%	6.4%	5.8%	12.7%		5.4%	10.4%
国民の寿命の延伸		低			高			大	有	高
		5.2%			4.6%			5.2%	11.0%	7.6%
国民の健康寿命の延伸	女性	低		有	高			大	有	高
	6.4%	8.1%		7.3%	12.2%			7.2%	5.0%	8.2%
医学・薬学の発展						低	大		有	高
						7.1%	10.4%		6.5%	13.8%

注 1: 価値要素を被説明変数とし、「非常に重要」もしくは「重要」を選択回答した場合に 1 をとり、そうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。
 注 2: 統計的有意差があったもの(10%水準で有意)を特徴として表内上段、Coef(係数)を下段に記載。
 注 3: 欠測値を有する方は解析から除外した。
 出所:「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.1.12 価値ごとに見た、属性区分ごとの特徴分析

次にマクロ視点のそれぞれの価値要素について、属性の特徴を分析する。それぞれの価値要素を被説明変数とし「非常に重要」もしくは「重要」を選択回答した場合に 1 をとりそうでない場合に 0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析により統計学的に有意であった属性の特徴を表 18 に示す。

マクロ視点で見た医薬品の価値として「社会保障制度の持続性」を重視するのは「無職者」、「介護が必要な家族有」、「最終学歴高」、「世帯年収低」、「医療負担額大」、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」と回答した属性で選択確率が高かった。中でも属性間で係数の大きかった「医療負担額大」や「自覚健康度高」が影響していることが推測される。同様に「国民の寿命の延伸」を重視するのは「低年代」、「最終学歴高」、「医療費負担感大」、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」と回答した属性で、選択確率が高かった。中でも属性間で係数の大きかった「受診・疾患有」や「自覚健康度高」が影響していることが推測される。また「国民の健康寿命の延伸」を重視するのは、「女性」、「低年代」、「介護が必要な家族有」、

「最終学歴高」、「医療費負担額大」、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」と回答した属性で、選択確率が高かった。中でも属性間で係数の大きかった「最終学歴高」や「低年代」、「自覚健康度高」が影響していることが推測される。最後に「医学・薬学の発展」を重視するのは「世帯年収低」、「医療費負担額大」、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」と回答した属性で、選択確率が高かった。中でも属性間で、係数の大きかった「自覚健康度高」や「医療負担額大」が影響していることが推測される。マクロ視点で見た医薬品の価値4つすべてに共通する特徴として、「受診・疾患有」、「自覚健康度高」が挙げられた。

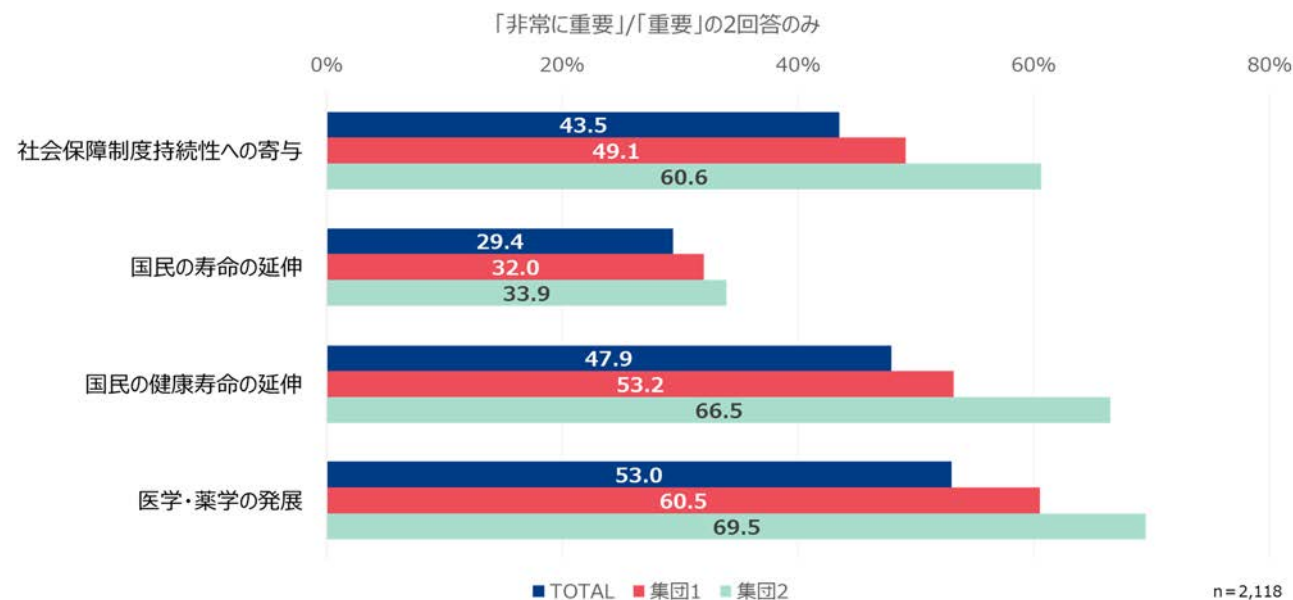
これらの結果より「社会保障制度持続性への寄与」、「国民の寿命の延伸」、「国民の健康寿命の延伸」、「医学・薬学の発展」のマクロ視点の4つの価値の要素について、属性（区分）ごとに重視する価値に違いがあることが示された。またその内容からは、重視する人の特徴には「医療負担額大」や「受診・疾患有」といった自身の置かれた状況（特に受診）と関係性がある場合、加えて「最終学歴高」や「低年代」、「自覚健康度高」といった必ずしも自身の置かれた状況によらない場合もあるのではないかと推測される。

2.4.1.13 「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析

本項でも「社会波及価値」要素を選択回答した集団では、マクロ視点の価値をどの程度重視しているのかを分析した。

集団は前述したとおりであり、集団の属性ごとの特徴を「非常に重要」もしくは「重要」と選択回答した場合とそれ以外に分け、クロス集計しグラフに示している。（図21）

図21 重視する医薬品の価値（マクロ視点）：「社会波及価値」を重視する集団の特徴分析



集団1：複数回答時に、社会波及価値を一度でも選択回答した人、ただし集団2を除く n=1,032

集団2：複数回答時に、生産性と社会復帰・復職と介護負担の軽減、すべてを選択回答した人、n=236

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

それぞれの価値要素を被説明変数とし価値要素を「非常に重要、もしくは重要」と回答した場合に1をとりそうでない場合に0、集団1および集団2を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を行い、統計学的に有意であった特徴を表19に記載している。

表 19 重視する医薬品の価値（マクロ視点）：「社会波及価値」を重視する集団別

	医療的な価値以外の価値を重視する集団	
	集団 1	集団2
	n = 1,032	n = 236
社会保障制度の持続性への寄与	高	高
	17.2%	28.7%
国民の寿命の延伸	高	高
	7.0%	9.0%
国民の健康寿命の延伸	高	高
	16.8%	30.2%
医学・薬学の発展	高	高
	21.2%	30.2%

n = 2,118

集団 1：複数回答時に、社会波及価値を一度でも選択回答した人、ただし集団 2 を除く n = 1,032

集団 2：複数回答時に、生産性と社会復帰・復職と介護負担の軽減、すべてを選択回答した人、n = 236

注 1：それぞれの価値要素を被説明変数とし、価値要素を「非常に重要、もしくは重要」と回答した場合に 1 をとり、そうでない場合に 0、集団 1 および集団 2 と説明変数とした、線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。

注 2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内上段、Coef（係数）を下段に記載。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

集団 1 および集団 2 では、いずれのマクロ視点でみた医薬品の価値においても選択確率が高いことが示された。集団 1 および集団 2 は、いずれもマクロ視点の価値においても有意に重視していた。また、集団 2 では集団 1 よりもいずれも係数が高く、集団 2 が影響していることが推測される。

これらの結果より集団 2 が肯定的な回答をする方向への偏りがある可能性も否定できないものの、「社会波及価値」を重視する集団では、社会に関わるマクロ視点の 4 つの価値（「社会保障制度持続性への寄与」、「国民の寿命の延伸」、「国民の健康寿命の延伸」、「医学・薬学の発展」）いずれも「非常に重要、もしくは重要」と回答した割合が高く、その傾向は集団 1 より集団 2 で大きく示されていた。

2.4.1.14 小括：国民が重視する医薬品の価値

本調査結果より明らかとなった医薬品の価値の認識について、回答者自身やその周囲に関わるミクロ視点と社会に関わるマクロ視点に、ミクロ視点は主に医療的視点に基づく「医療的価値」と医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」に分け、その結果を述べてきた。

まず重視する医薬品の価値の全体の傾向として、ミクロ視点では医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」より主に医療的視点に基づく「医療的な価値」が多く選択回答されたことから、「医療的な価値」を重視する人が多いことがわかった。

この結果はおそらく、医薬品の服用などの使用が自身やその周囲に波及的に影響をもたらすその価値が社会にも影響しうる価値よりも、医薬品の服用などの使用が自身に直接影響しやすく直接感じられやすい価値であるため、重視されやすいのだろうと推測する。また「社会波及価値」を実感するような疾患に直面していない国民が多いことも、「医療的な価値」が選択される頻度が高いことのひとつの要因だと考えられる。

一方で上位 3 つ回答時でも、「適切な患者への投与」や「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」、「医療従事者の負担軽減」、「生産性」といった「社会波及価値」を選択回答した割合が一定程度存在したことから、「社会波及価値」を重視する人もいるということがわかった。「社会波及価値」を重視する人は、医療機関に受診中の人や「生産性」や「適切な投与患者への投与」を、「高年代」、「有職者」が「社会復帰・復職」を、「最終学歴低」、「介護の必要な家族有」の人が「介護負担の軽減」をより多く選択回

答していた。この結果より自身の置かれた状況により重視する価値に違いがあらわれ、自身の置かれた状況に関係性の深い価値として「社会波及価値」が重視される場合が多いのではないかと考える。

「社会波及価値」は自身の置かれた状況に関係性の深い状況とならなければ意識されず重視されにくい可能性もあるが、一方で「最終学歴」のように自身の置かれた状況によらない選択要因もあるかもしれない。

次に「社会波及価値」を認知し少しでも重視する傾向がある集団 1 と、特に自身やその周囲に波及的影響をもたらしやすいと想定される価値（「生産性」、「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」）を重視する傾向がある集団 2 に分け、集団としての特徴をみた。

「社会波及価値」を重視する集団としては、「男性」より「女性」で多いこと、「社会波及価値」を認知し少しでも重視する傾向がある集団 1 は、「60代以上」、「世帯年収低」、「受診・疾患有」で多いこと、自身やその周囲に波及的影響をもたらしやすいと想定される価値（「生産性」、「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」）を重視する傾向がある集団 2 は、「30～50代」、特に「40代」で多いという違いや特徴が明らかになった。集団 1 と 2 の年代的な違いからは、「30～50代」では特に「生産性」、「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」と自身の置かれた状況に関係性の深い事情、例えば、子育てや家事、仕事、介護を中心に担うもしくは、こうした点に課題を抱えるといった背景があるのかもしれない。

QOL や精神面への影響等が異なる 3 疾患を挙げ疾患を患ったと想起した場合には、想起しない場合と、また想起した疾患により、重視する価値の傾向に違いがあった。また、実際に疾患を抱え現在受診している者では、当該受診のない者と抱える疾患により重視する価値（ミクロ視点）に違いがあることが示唆された。これらより重視する医薬品の価値そのものが一律でなく、疾患によって変わりうること、その疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が重視する価値やその優先度を変える可能性があるかと推測される。

重視する医薬品の価値の全体の傾向として、マクロ視点では「社会保障制度持続性への寄与」、「国民の寿命の延伸」、「国民の健康寿命の延伸」、「医学・薬学の発展」、について重視する 2 回答（「非常に重要」もしくは「重要」）で結果をみると、割合が高い順に「医学・薬学の発展」、「国民の健康寿命の延伸」、「社会保障制度持続性への寄与」、「国民の寿命の延伸」であり、3割～5割程度の回答者が重視しているという結果に留まっていた。これら 4 つの価値は、医薬品の服用などの使用には、自身以外のものを含み自身やその周囲を越えて社会全体に影響を及ぼす点で、ミクロ視点と異なっている。そのため直接感じにくく、重視されにくいかもしれない。しかし、自身やその周囲よりも広範囲で影響をもたらす社会的影響の大きい価値である。

マクロ視点の医薬品の価値を重視する人は、「社会保障制度の持続性」や「医学・薬学の発展」では「医療負担額大」や「自覚健康度高」、「国民の寿命の延伸」では「受診・疾患有」や「自覚健康度高」、「国民の健康寿命の延伸」では、「最終学歴高」、「低年代」、「自覚健康度高」といった回答が有意に多く特徴として示された。この結果より、マクロ視点の価値であっても重視する人の特徴には、「医療負担額大」や「受診・疾患有」といった自身の置かれた状況（特に受診）と関係性がある場合、加えて「最終学歴高」や「低年代」、「自覚健康度高」といった必ずしも自身の置かれた状況によらない場合もあるのではないかと推測される。マクロ視点の価値は受診や罹患の経験から学ぶあるいは発見する側面がある一方で、自身の置かれた状況によらず客観的で長期的な視点で回答がしやすかったのかもしれない。

また「社会波及価値」を重視する 2 つの集団では、2 つの集団に共通しマクロ視点の 4 つの価値いずれも「非常に重要、もしくは重要」と回答した割合が高く、その程度は集団 1 より集団 2 で高く示された。

「社会波及価値」を重視する集団では、マクロ視点の4つの価値もより認識し重視している傾向が明らかになった。「社会波及価値」を重視する2つの集団、とくに集団2では医薬品の服用などの使用によらず医薬品の社会的な目標への貢献としての社会的価値を示す「マクロ視点の価値」も重視している可能性があることから、ヘルスリテラシーが高い可能性もあるだろう。

2.4.1.15 小括：国民の医薬品の価格や制度への意識や興味関心、重視する医薬品の価値

医薬品の価格や制度への国民の意識や興味関心の程度は低くない。一方で、一般に健康な若年層を中心に医療への関りが少ないと、意識や興味関心が高まりにくい。高まる起点の一つには「理解」の深まりがあり、健康な人も含めた医薬品の価格や制度へ理解の重要性が挙げられる。理解に資する説明やそれを基にした理解が促進されることの重要性が浮き彫りとなり、わかりやすく伝え届けることも重要である。

また、薬価は皆に近い存在ではないものの「新薬の薬価の決め方」や「新薬の価値の反映の仕方」への興味関心が高い人もいるということがわかった。価格や制度への意識や興味関心が高い人がさらに知りたい等の興味関心が高かったことから、意識や興味関心の程度に合わせ価格や制度の知識や認識などを増やすことにより、さらに意識が高まる可能性を期待する。

重視する医薬品の価値の傾向として、医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」より、主に医療的視点に基づく「医療的な価値」を重視する人が多いことがわかった。この結果は、おそらく医薬品の服用などの使用が自身やその周囲に波及的に影響をもたらし、その価値が社会にも影響しうる価値よりも医薬品の服用などの使用が自身に直接影響しやすく直接感じられやすい価値であるため、重視されやすいのだろうと推測する。また、「社会波及価値」を実感するような疾患に直面していない国民が多いことも「医療的な価値」が選択される頻度が高いことのひとつの要因だと考えられる。一方で「適切な患者への投与」や「社会復帰・復職」、「介護負担の軽減」、「医療従事者の負担軽減」、「生産性」といった「社会波及価値」を重視する人もいるということがわかった。自身の置かれた状況により重視する価値に違いがあらわれ、自身の置かれた状況に関係性の深い価値として「社会波及価値」が重視される場合が多いのではないかと考える。

QOLや精神面への影響等が異なる3疾患を挙げ疾患を患ったと想起した場合には、想起しない場合と、また、想起した疾患により重視する価値の傾向に違いがあった。また、実際に疾患を抱え現在受診している者では、当該受診のない者と、また、抱える疾患により重視する価値に違いがあることが示唆された。これらより、重視する医薬品の価値そのものが一律でなく疾患によって変わりうること、その疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が重視する価値やその優先度を変える可能性があるかと推測される。

2.4.2 PPIの最新動向

政策研ニュースのNo65「PPI (Patient and Public Involvement) の最新動向ー患者・市民参画の成長期ー」に記載したように、わが国のPPIは日々進歩がある状況である。本稿では政策研ニュースのNo65とは違う視点を交えつつPPIの最新動向を示す。

2.4.2.1 PPIとは

PPIは英国で最初に採り入れられた考え方で、患者・市民のために、または患者・市民について研究が行われることではなく「患者・市民と共に、または患者・市民によって研究が行われること」という、元々は研究分野（医学研究や臨床試験など）に寄った定義⁴⁵がある。

しかし近年では、研究分野に限らず医療政策など全般において、その意思決定の場に患者・市民の参画を求める、つまり、患者・市民をパートナーと考えるようになりつつある。日本のPPIは創薬、育薬プロセスを中心に、様々なライフサイクルに広がり深まりつつある。

政策研ニュース No65 では課題を起点に、研究・開発者側、患者・市民側、社会全体における事例やその成果を、規制当局や民間の取り組みを中心に示してきた。情報を得る機会が少ないとされた研究者側では、AMED⁴⁶を中心とした、知らせる、広める、育てる活動が実を結びつつある。また、情報を得る機会が少ないとされた開発者側では各企業による活動が活発化していることに加え、PMDAによる患者参画ガイダンスが発行され、開発や上市後活動へのPPI体制づくり風土醸成への期待が膨らむ。PPIに関する教育機会が少ないためPPIへ参加意欲がありかつ準備のある人材が少ないとされた患者・市民側では産患官学民による、知らせる、広める、育てる活動が活発化しており、総じてPPI活動への関心や取り組みが不十分とされた社会全体にも影響を与え始めている。

本稿では、増えつつある製薬企業や患者発の取り組みを中心に紹介する。

表 20 近年のPPIに関する主な取り組み事例（企業、患者発の取り組みを中心に）

主体	主な取り組み例	取り組みによる目的や成果等
製薬企業 (開発支援会社と製薬企業)	がん・希少疾患・難病・CNS(Central Nervous System/中枢神経系)領域疾患の患者対象調査の実施、公表	患者視点でのPC/PPI活動の必要性を明らかにする。
製薬企業 (個別)	患者・市民参画の推進による治験啓発を考えるメディアセミナーの開催	患者さんの意見を取り入れた医薬品開発の推進に向けて、当該会社が今後取り組んでいくべき課題が明らかとなり、その解決に向けたアイデアも多く得ることができた。
製薬企業 (個別)	患者団体とともに臨床試験情報の提供のあり方を考えるイベントの開催	臨床試験情報の提供における現状の課題と解決策の示唆。臨床試験の情報を知りやすく届けることは、患者の臨床試験への参加を促し、ひいては新薬開発の加速につながる。業界、行政、患者が協力して取り組みを進めていくことが重要。
製薬企業 (3社合同)	PPI推進に向けて、製薬企業と患者団体とのトップ対談実施	課題解決に向けた取り組みは一社一団体の力だけでは実現が難しいことが再確認され、PPIを推進するためにより多くのステークホルダーを巻き込むべく、5者で共同メッセージの策定、発信。
患者団体 (一般社団法人全国がん患者団体連合会)	がん患者学会2023における各種セッション ・患者アトボカシーの推進に向けて ・がん治療における意思決定支援～患者と医師のギャップを埋めるためのコミュニケーション ・ヘルスリテラシー：健康・医療の情報を読み解き、活用していくために ・臨床試験のアクセス向上に向けた情報提供について ・10分でわかる！レイザリーについて 等	患者さんや家族を対象としたPPI周知促進。
患者団体と学会	患者が作成に本格的に参画し、「患者・市民のための膵がん診療ガイド」を作成	医療者向けガイドラインを底本として、患者向けにわかりやすく解説し直すのではなく、医療者向け『膵癌診療ガイドライン』と患者向けの本書、双方の作成に患者・市民が参画して行われた新しい取り組みがなされた。
大学病院 開発部	「みなさんと一緒に“くすり”をつくりたい」：市民公開セミナー、ワークショップ開催	一般の方を対象としたPPI周知促進。
病院 (国立がん研究センター東病院)	がん患者や一般の人が治療、研究の仕組みを学び、研究者とも意見交換できる交流サイト（SNS）、フェアリーズの運用	病気の原因や治療法を探る研究に、患者らの意見を反映する取り組み（PPI）は、患者は困っているが医師らが注目していない症状を研究したり、患者の精神的身体的な負担が少ない研究計画を作れたりする利点がある。

出所：医薬産業政策研究所にて作成

⁴⁵ 英国 National Institute for Health Research (NIHR) の助言機関「INVOLVE」による Patient and Public Involvement の定義を参照。

⁴⁶ AMED の WEB サイト「研究への患者・市民参画 (PPI)」等参照、<https://www.amed.go.jp/ppi/>（参照：2024/1/31）

2.4.2.2 近年の PPI に関する主な取り組み事例

近年の PPI に関する主な取り組み事例を表 20 にまとめて記載している。

3H メディソリューション株式会社は、第一三共株式会社と共同で医薬品開発における PC(Patient Centricity)や PPI といった取り組みに関する患者調査を実施⁴⁷した。近年 PC や PPI といった患者の声を医薬品開発に取り入れる取り組みが進み始めているが、欧米に比べると日本ではまだ課題も多く取り組みが不十分な部分もある。こうしたなか今後 PC/PPI の取り組みを進めていくうえで、患者がこの活動についてどう感じるのかについて調査を実施した。がん・希少疾患・難病・CNS(Central Nervous System/中枢神経系)領域疾患の患者 201 名に回答いただき、患者視点での PC/PPI 活動の必要性を明らかにした。

PC や PPI 活動に関する取り組みについて「よい取り組みだと思う」77.6%、「どちらかといえばよい取り組みだと思う」21.9%と、合計で 99.5%の方が「よい取り組み」と回答しており、患者から高い評価を得ていた。新薬開発で意見を伝える機会があれば参加したいかという問いに関しても「参加したい」64.2%、「やや参加したい」29.9%と計 94.1%が参加に対し、前向きな回答となっていた。一方で PC/PPI 活動への参加経験については「参加したことがある」7.5%に留まり、「参加したことはないが、聞いたことがある」が 51.7%の結果となった。今回の調査に回答した患者のほとんどが PC/PPI 活動について好評価と参加意欲を示しており、今後、PC/PPI 活動への参加機会の提供が必要だと思われる、としている。

患者調査の結果からは、PPI の認知向上や PPI 活動への参加機会の提供が重要であるが、製薬企業などはどのような取り組みを行ってきているか。

製薬企業個社での事例としてアストラゼネカ株式会社では「患者中心の医薬品開発」を重点取り組み項目の一つとし患者の声を生かした医薬品開発の実現を目標にタスクフォースを結成し、実際に患者より医薬品開発に対する意見や要望を伺う取り組みを行っている。実際に患者の声を聞くなかで治験をより身近な存在にしていくことや、治験のプロセスにおいて患者・市民の知見を参考にすること、即ち PPI の推進の必要性を実感し自分たちがそのために何ができるかを考え、医薬品開発に関わる皆さまと共に患者を中心に据えた医薬品開発について共に考え話し合う場を作ることを発案、メディアセミナー「新規治療開発を推進するための製薬企業と医師、患者さんの協働⁴⁸」を開催している。

このセミナーを通じ、患者の意見を取り入れた医薬品開発の推進に向けて今後取り組んでいくべき課題が明らかとなり、その解決に向けたアイデアも多く得ることができたとされる。

同じくアストラゼネカ株式会社では、がん患者団体とともに臨床試験情報の提供のあり方を考えるイベント⁴⁹を開催し現状の課題と解決策の示唆を得ている。臨床試験の情報をわかりやすく届けることは、患者の臨床試験への参加を促しひいては新薬開発の加速につながる。業界、行政、患者が協力して取り組みを進めていくことが重要である。

製薬企業では個社によらず、合同で企画するイベントも行われ始めている。製薬 3 社（第一三共、武田薬品工業、中外製薬）と患者団体 2 団体（全国がん患者団体連合会、日本難病・疾病団体協議会）は日本における PPI の推進に向けて「医薬品研究開発への患者参画」および「情報提供のあり方」をテー

⁴⁷ 「がん・希少疾患・難病・CNS 領域疾患の患者の 99%がよい取り組みと高評価。 Patient Centricity(患者中心)や PPI(患者・市民参画)活動に関する患者調査」参照、<https://3h-ms.co.jp/archives/news/19427> (参照：2024/1/31)

⁴⁸ アストラゼネカ WEB サイト、「患者・市民参画の推進による治験啓発を考えるメディアセミナー「新規治療開発を推進するための製薬企業と医師、患者さんの協働」を開催」参照、<https://www.astrazeneca.co.jp/stories/news/media-seminar-on-clinical-trials.html> (参照：2024/1/31)

⁴⁹ アストラゼネカ WEB サイト、「アストラゼネカ、患者さんにおける治験情報格差への挑戦」参照、<https://www.astrazeneca.co.jp/stories/partnering/patient-forum1.html> (参照：2024/1/31)

マに対談⁵⁰を実施した。

PPI が日本よりも推進されている欧米においては、PPI の推進には患者・患者団体や医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダー間で相互理解を深めるための対話の場をもつことが非常に重要であると言われているが、日本においてはそのような機会がまだ多くはないのが現状である。

さまざまな課題を共有するなかで課題解決に向けた取り組みは一社一団体の力だけでは実現が難しいことが再確認され、PPI を推進するためにより多くのステークホルダーを巻き込むべく、5 者で共同メッセージの策定に至った。PPI の発展を通じて患者、患者団体、医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダーによる対話の場を継続して拡大し、より良い医療環境を共創していくことを共同メッセージとして発信している。

患者発の取り組みも実施されている。一般社団法人全国がん患者団体連合会（全がん連）では、全国各地のがん患者団体やがん患者支援に関わっている方に共に課題について学ぶ機会として、がん患者学会 2023⁵¹を開催し患者が学べる PPI 関連セッションが複数実施されていた。患者アドボカシーの推進やがん治療における意思決定支援、ヘルスリテラシー、臨床試験のアクセス向上に向けた情報提供、レイサマリー、といった多岐にわたる内容である。

また、患者団体と学会の協働取り組みとして、患者が作成に本格的に参画し「患者・市民のための膵がん診療ガイド」を作成した事例⁵²がある。膵がんの患者会にアンケートを実施し患者・市民 4 名で構成するガイドライングループでアンケートの分析結果を踏まえた重み付けをしたうえで、医療者の評価と照らし合わせガイドラインで取り上げるべきテーマを抽出。結果として、治療の流れや最新治療の解説のほか精神面の不安や医療者とのコミュニケーションに対するアドバイス、医療費や仕事との両立など患者目線のトピックスが多く盛り込まれた。さらに患者・市民グループが執筆したコラム、用語集、薬剤名一覧なども付いている。医療者向けガイドラインを底本として患者向けにわかりやすく解説し直すのではなく医療者向け『膵癌診療ガイドライン』と患者向けの本書、双方の作成に患者・市民が参画して行われた新しい取り組みがなされている。

名古屋大学医学部付属病院 先端医療開発部の市民公開セミナー、ワークショップ⁵³は、PPI とは新しい薬や治療法などの開発の過程で医療従事者や研究者だけでなく広く市民のみなさんに参画していただいて一緒になって医薬品などを開発していく取り組みであることを、地域のみなさまに伝える目的で開催され、一般の方を対象とした PPI 周知促進がなされている。

最後に病院が中心となって進める、患者だけでなく一般の方を含めた PPI の事例を挙げる。国立がん研究センター東病院が中心となり、がん患者や一般の人が治療、研究の仕組みを学び、研究者とも意見交換できる交流サイト（SNS）、フェアリーズ（Fairy's）⁵⁴の運用を開始している。

フェアリーズには学び、研究参画、交流の三つの場を設ける。学びの場はウェブ上の教材や動画で、がんの医療を巡る倫理的、社会的な課題を学べる。研究参画の場では研究内容や患者向けの説明文書に

⁵⁰ 中外製薬 WEB サイト、「PPI 推進に向け、患者団体 2 団体と製薬企業 3 社のトップ対談が実現」参照、https://www.chugai-pharm.co.jp/sustainability/activity/detail/20231116000000_138.html（参照：2024/1/31）

⁵¹ 一般社団法人全国がん患者団体連合会（全がん連）、「がん患者学会 2023」プログラム参照、http://zenganren.jp/wp-content/uploads/2023/08/event_20230804_01.pdf（参照：2024/1/31）

⁵² ケアネット記事、患者が作成に本格的に参画、『患者・市民のための膵がん診療ガイド』、<https://www.carenet.com/news/general/carenet/56868>（参照：2024/1/31）

⁵³ 名駅経済新聞、「みなさんと一緒に“くすり”をつくりたい」名古屋大学医学部付属病院 先端医療開発部の市民公開セミナー ワークショップ開催のお知らせ、<https://meieki.keizai.biz/release/245281/>（参照：2024/1/31）

⁵⁴ 国立がん研究センター WEB サイト、SCRUM-JAPAN MONSTAR-SCREEN 「がん患者・市民参画プラットフォーム「Fairy's」キックオフイベント・第 1 回対話会 Fairy's でどんなことをしていくの？」参照、<https://www.ncc.go.jp/jp/ncce/info/seminar/2024/0124/index.html>（参照：2024/1/31）

意見を述べられる。交流の場は参加者同士が情報を交換しつつ支え合う場所になる。PPIには患者は困っているが医師らが注目していない症状を研究したり、患者の精神的、身体的な負担が少ない研究計画を作れたりする利点があるとしている。

2.4.2.3 レイサマリーとその標準化に向けて

次に、研究や開発段階におけるレイサマリーの進展について示す。

臨床試験が終了すると多くの場合、その試験の内容や結果は医学論文として公表される。このような論文は専門家のために書かれるもので、患者・家族や市民にとっては読みやすいものではない。一方、試験の内容や結果を誰もが読んで理解できるようにまとめたものをレイサマリー（Lay Summary）と呼ぶ。同じものをレイパーソンサマリー（Layperson Summary）やプレインランゲージサマリー（Plain Language Summary：PLS）と呼ぶこともある。

欧州ではすべての臨床試験に対してレイサマリーの作成が必須となっており、臨床試験参加者だけでなく誰もがレイサマリーを読むことができる。日本ではこうした制度はなく、誰もがレイサマリーを自由に見られる状況にはないが、2023年1月24日厚生労働省が通知「治験に係る情報提供の取扱いについて⁵⁵」を発出したことで、患者・家族や市民がレイサマリーを含む臨床試験情報にアクセスできる環境が徐々に改善されることが期待されている。

2.4.2.4 レイサマリーの個社の取り組み事例と変遷

2013年7月に米国研究製薬工業協会（PhRMA）と欧州製薬団体連合会（EFPIA）が透明化策として「臨床試験データ共有の原則」を発行したが、その中には研究者に対するデータ開示や患者自身との臨床検査値情報などの共有、製薬企業が実施した治験結果の論文化などがあつた。治験参加の被験者に治験結果の要約を提供するのもこの一環とされ、ファイザーは今から9年前の2015年より日本で治験に参加した被験者に対して治験の意義や試験結果を分かりやすい言葉で説明した文書「ペーシェントレイサマリー」を医療機関に配布し始めていた。

日本での最初のサマリーは、日本国内だけで実施している抗菌薬の臨床第3相試験であつた。米国の6～8年生（日本の小学校5年生～中学校2年生に相当）レベルが理解できるようなかみ砕いた文章で、この抗菌薬を開発することの医療上の意義やプロトコルの概略、治験結果（有効性と有害事象）などを説明している。文書はファイザーから直接患者に渡すのではなく治験実施施設を通じて患者に配布した。

その際の振り返りでは、治験に参加いただいた被験者に対して、治験の結果を要約し分かりやすい言語で届けるといふ試みに対してほとんどの治験実施施設で理解を頂けたとしている。また、治験終了後のこの活動には依頼者、責任医師、被験者を結ぶCRCは不可欠な存在であることや今後この取り組みを標準化していくには社内外の部署やシステム、SOPなどハード/ソフト双方のインフラ整備が必要であること、治験依頼者とは違う立場の団体の介在が必要であること、標準化に向けてこれらの団体の育成、確保も課題として挙げている⁵⁶。

9年たった今どのように広がりを見せるか。例えば中外製薬⁵⁷のように患者向けの報告書を作成、提供

⁵⁵ 令和5年1月24日付 薬生監麻発0124第1号「治験に係る情報提供の取扱いについて」

⁵⁶ 有働 建史、「被験者への治験結果の提供について」、<http://efpia.jp/link/CS3-1.pdf>（参照：2024/1/31）

⁵⁷ 中外製薬、「ESG説明会」、[https://www.chugai-pharm.co.jp/cont_file_dl.php?f=FILE_2_120.pdf&src=\[%0\],\[%1\]&rep=117,120](https://www.chugai-pharm.co.jp/cont_file_dl.php?f=FILE_2_120.pdf&src=[%0],[%1]&rep=117,120)

している会社、グラクソ・スミスクライン⁵⁸や大塚製薬⁵⁹のように実施する治験の結果をホームページに公開する会社もある。また、2023年10月には小野薬品工業とブリストル・マイヤーズ スクイブは、抗PD-1抗体「オプジーボ」についてがん研究やがん治療に関する科学的知見を掲載する科学雑誌であるFuture Oncologyに掲載されている臨床試験結果（英語）3件に関するPlain Language Summary of Publication（平易な言葉を用いて分かり易く要約されたもの、以下「PLS」）の日本語翻訳が、同誌に掲載されたことを発表⁶⁰している。今後は国際ジャーナルに掲載された主要な第III相臨床試験のPLSについて、日本語翻訳のサポートを行っていくとしている。

2023年8月には研究段階において試験に参加された患者向けに、臨床試験の結果について説明文書を作成、公開する事例⁶¹も出てきている。

2.4.2.5 「レイサマリー作成の手引き」の作成、提供開始⁶²

レイサマリーが浸透し始めているわが国でPPI JAPANは、患者・家族や市民が臨床試験の計画や実施状況はもちろん結果についても知る権利があると考え、欧州では一般的となっているレイサマリーに目を向け日本での周知・普及の第一歩のために2022年6月、ワーキンググループを設置した。

この活動として欧州のグッド・レイサマリー・プラクティス（Good Lay Summary Practice : GLSP）を基準に、日本の実態に合わせたレイサマリー作成の手引き（第1版）を作成した。

手引きの作成では、まず実態把握と事例分析によりレイサマリーへの理解を深め草案を作成。草案段階では企業、患者団体、規制当局、アカデミアなど様々な立場の方との勉強会やワークショップを通じ意見を交換した。「レイサマリー作成の手引き」（第1版）は産患官学共創の結果、完成した。レイサマリーを作成したいと考える企業・研究機関、レイサマリーについて知りたい患者・家族や市民、医療者に向けて「レイサマリー作成の手引き」を作成、提供している。内容としてはレイサマリーとは何か、必要な要素、作成に関して考え方やタイミング、レビューの手順、提供について等がまとめられている。

手引きの中でも、日本臨床腫瘍研究グループ（Japan Clinical Oncology Group : JCOG）が実施するような医師主導の臨床試験でもレイサマリーが作成されていることが紹介されている。JCOGでは2023年12月14日現在5つの試験のレイサマリーを公開している。

概ねこの臨床試験の目的と概要、結果について（主な結果、副次的な結果）、副作用について、もしくは手術合併症について、この臨床試験でわかったこと、この臨床試験が計画された経緯、この臨床試験の今後の予定と掲載サイト情報についてといった項目で記載がなされている。

PPI JAPANはこの手引きを参考にレイサマリーが多くの臨床試験で作成されることで、様々な立場の人々へのメリットや価値につながるとしており、患者・家族にとってのメリットとして自身が参加した臨床試験の結果を知ることができる、臨床試験の傘下の判断材料の一つになる、開発の長い道のりを確かめることができると記載がある。また、医療者と患者・家族の間での情報の非対称性の改善につなが

⁵⁸ グラクソ・スミスクライン WEB サイト、「患者さんにもわかりやすい治験結果公開のお知らせ」、https://jp.gsk.com/ja-jp/news/press-releases/20180213_pls/（参照：2024/1/31）

⁵⁹ 大塚製薬WEBサイト、「臨床試験結果のまとめ（Plain Language Summary）」、<https://www.otsuka.co.jp/research-and-development/clinical-trial/pls/>（参照：2024/1/31）

⁶⁰ 小野薬品工業WEBサイト、「オプジーボの臨床試験結果の論文を平易な言葉を用いて分かり易く要約したブレーション・サマリーの日本語翻訳がFuture Oncologyに掲載」、<https://www.ono-pharma.com/ja/news/20231012.html>（参照：2024/1/31）

⁶¹ 日本臨床腫瘍研究グループ（JCOG）、「乳がんグループ JCOG1017 の患者さん向けの試験結果説明書を公開しました」、<https://jco.jp/topic/general/jcog1017laysummary.html>（参照：2024/1/31）

⁶² PPI JAPAN WEB サイト、https://www.ppijapan.org/lay_summary（参照：2024/1/31）

るともある。

2.4.2.6 小括：PPIの最新動向

この数年で、製薬企業は患者視点でのPPI活動の必要性を明らかにする調査結果を示したり、PPIによって自社の課題と解決策の示唆を得ることでより早期により良い薬を届ける模索をする、時に複数社で一社一団体の力だけでは実現が難しいことやPPIを推進するためにより多くのステークホルダーを巻き込むことの重要性を発信するに至っている。患者発、患者自らPPI促進を促したり、一般を含めたよりわかりやすく親しみやすい媒体で、学びや交流の場を提供するなど日々進化を遂げている。PPIは急速に浸透していく日が近いと言えるだろう。

政策研ニュース No65 でも述べたように、わが国のPPIの益々の成長には「連携」が鍵となると考える。患者や市民、研究や開発をするアカデミア、製薬産業、規制当局等のステークホルダー（産患官学民）の連携により、事例や経験を効率的かつ有効に活用すること、そして患者の代表性を高め多様性を向上させることがPPIのさらなる成長を促すことと期待する。

研究や開発段階におけるレイサマリーはおそらく10年前には想像できなかったであろう、急速に進みだしており「レイサマリー作成の手引き」が作成、提供されるまでに至り標準化される日も近いと推測する。レイサマリーは参加した臨床試験の結果を患者や家族が知ることができるだけでなく、臨床試験の参加の判断材料の一つになる、また、医薬品の開発の長い道のりを確認することができるほか医療者と患者や家族の間での情報の非対称性の改善につながる。患者や家族が、医薬品について自分事としてとらえたり、納得して治験に参加する、医療を受けるに重要な役割を担うだろう。レイサマリーは、狭義には、参加した臨床試験についてその患者や家族に納得感をもたらす、広義には、医薬品やその価値にも納得感をもたらすと想像する。

2.4.3 英国 NICE における患者・市民の参画について

英国では NICE と呼ばれるイギリス保健省配下の公共機関が、英国国民に提供する標準治療を提言し、ガイドランス（指針）として発行している。すなわち、臨床ガイドラインのガイドランス作成や医薬品や医療機器の技術評価などを担っている。NICE が NHS（イングランド、ウェールズ、スコットランドの国民保険サービス）の下で、「〇〇（疾患）の治療に〇〇（薬剤）を用いることを推奨する勧告を出した」といったニュースを日本でもよく目にする。つまり、NICE の決定事項となるガイドランスは各国でも注目を集めるわけだが、ここでは NICE で実行される PPI 取り組みについて紹介する。

PPI については英国で最初に採り入れられた考え方であることが知られるが、欧州では、医薬品の開発段階、承認審査、市販後の全過程で、EMA⁶³の活動に患者の声を取り入れることが可能となっている。中でも NICE は PPI に関する年次報告書⁶⁴を発行し、様々な取り組みについて掲載している。

2.4.3.1 WEB サイトから見る NICE の PPI

NICE の WEB サイト⁶⁵には、「あなたを私たちの仕事の中心に据える」、「あなたの経験は、私たちのガイドランス、基準、アドバイスの開発に不可欠」といった PPI の必要性を前面に出す記載がなされており、誰でも要件を満たせば、NICE の開催する会議体の一般委員に申し込みが可能となっている。

一般委員には、医療・福祉サービスを利用する人、医療・福祉の専門家、家族などの介護者、医療関連専門家、地方自治体職員などが参画できる。

また WEB サイトでは欠員がある現在募集中の委員会情報の閲覧が誰でも可能となっており、一般委員の申し込みもできる。2023 年 12 月 12 日時点で現在募集中の委員会情報の閲覧ができたものを取り上げてどのようなことが書かれているかを記載する。

「COPD の自己管理のためのデジタルプラットフォームの一般委員」の募集では、契約期間が 6 か月以内であること、参画の条件としては全委員会の 80%に出席すること、また、開場・開催形式が WEB 形式であること、そして、謝礼は終日ミーティングで£150、半日ミーティングで£75 であること、募集の期限が 2024 年 1 月 18 日であることが明記されていた。

NICE の方針では、各委員会のメンバーに少なくとも 2 名の一般委員を加えるべきとしている。2019～20 年度には、79 人の委員会の欠員に対して 494 人の応募があり最終的に 63 人を様々な委員会に採用したと年次報告書に記載がなされていた。

患者や市民が参画するメリットとして医療や福祉サービスを向上させるガイドランスを開発し、人々の生活に変化をもたらす機会を得られる。また、様々な背景やスキルを持つ人々と協働することでコミュニケーションスキルを向上させ自信が得られるとされる。

終了時には NICE がアンケートを実施しており、回答者の 90%は協働経験を「良い」または「素晴らしい」と評価している。肯定的意見には「自分の意見に耳を傾け、尊重され、大切にされている」、「委員が平等である」、「フレンドリーな委員会で、歓迎されていると感じられる」といった意見、反対に否

⁶³ European Medicines Agency の略、欧州医薬品庁と言う EU における医薬品の中央審査を管轄する組織。

⁶⁴ NICE、"Public Involvement at NICE Annual report 2019/2020"、<https://view.officeapps.live.com/op/view.aspx?src=https%3A%2F%2Fwww.nice.org.uk%2FMedia%2FDefault%2FAbout%2FNICE-Communities%2FPublic-involvement%2FPublic-involvement-programme%2FPublic-Involvement-Annual-report-2019-20.docx&wdOrigin=BROWSELINK>（参照：2024/1/31）

⁶⁵ NICE の WEB サイト、<https://www.nice.org.uk/>（参照：2024/1/31）

定的意には、書類の送付が遅れたり、締め切りが早い、会議での IT の問題、開発者チームとのコミュニケーション不足などが挙げられている。参画した本人が委員会に与えた影響を尋ねると 90%の人が一つ以上の回答をしており、「影響力のある根拠と提言」が最も多かった。

年次報告書（図 22）では、新たに HTA に参画する患者や団体のために患者向け情報要約（SIP）を開発する作業を一般委員と共同で実施した旨の記載があった。SIP は患者が HTA に対し意見を絞った意見を述べられるように、医薬品や医療機器に関する情報を平易な言葉で記述したものである。

新たにソーシャルメディアを活用した患者・市民へのリーチ向上にも取り組まれ、715 ツイート、951,200 インプレッションが得られ、より多くの一般市民やさまざまなコミュニティーにリーチしステークホルダーとより効果的に連携・コミュニケーションをはかったとされる。

図 22 NICE における患者・市民の参画について



- 165人の参加者を支援
- 参加者の90%の人が、経験を「良い」または「素晴らしい」と評価
- 63人の委員を採用
- 慢性疲労症候群の人々の声を、この疾患に関するガイドラインに含めることができるように調整
- 委員長は、この委員会をとてわかりやすいものにしてくれたので、一般委員である私が迷ったり取り残されたりすることはなかった。（一般委員の声）
- Twitterアカウントを通じて715のツイートを獲得
- 8,000人がツイッターのプロフィールを閲覧
- ツイッターのフォロワーが18%増
- 12の団体と面会し、活動への参加を呼びかけ
- 一般委員の役割を支援するため3日間の研修を開催
- 広く知ってもらうため、国内外の9つのイベントでプレゼンテーションを実施
- NICEスタッフ向けのガイドを作成
 - このガイドでは、一般会員の役割と価値について概説し、一般会員が私たちと仕事をする際にどのようにサポートすればよいかを提案している

出所：Public Involvement at NICE Annual report 2019/2020 を基に医薬産業政策研究所にて作成

2.4.3.2 NICE における PPI の良点（私見）

NICE における PPI 取り組みを概観し、PPI という視点でわが国の新薬の薬価を決めるもしくは薬価制度を決める会議での議論について、国民の納得性を高める視点で参考となる点を著者の私見として示す。（図 20）

まず、一般委員の参画意義や求められる役割、対価が明確であり客観視できる点で透明性が高いと言える。また、参画した人のアンケート調査結果では参加者のやりがいにつながっていることも明らかである。そうした背景には、委員長などにより平等でフレンドリーな会議が作られている点も一つであると推察する。会議そのものについてよりよい手法、プロセスを参画したメンバーと一緒に考え、常に改良していきそのプロセスも PPI であると言える。特に医薬品や医療技術評価に対する難しさが NICE、一般委員の双方で認識されており、NICE による必要な研修体制も充実しつつあるようだがさらなる充実に期待が寄せられている。患者・市民の参画について SNS 等を活用し積極的な周知がなされ、国民への認知が徐々に広がっている。また、国内だけでなく国外への発信活動も積極的に実施されている。NICE が社会と共創することが国外への魅力発信の一つとなっているものと思う。

なお、医薬産業政策研究所で実施した勉強会（2022年7月）にて、山口育子氏（認定NPO法人ささえあい医療人権センターCOML 理事長）より、英国では患者や一般の方が会議の委員をすることが社会的ステータスとなっている現状と、比較して日本は疾病がないような若年層も含め参画することの社会への貢献をどう意識づけできるか、これからの課題であることをお示しいただいている。

図 23 NICE における患者・市民の参画のポイント

- 一般委員の参画意義や求められる役割、対価が明確であり、客観視できる点で透明性が高い。
- アンケート調査結果では、参加者のやりがいにつながっていることが明らかである。
- 平等でフレンドリーな会議が委員長などにより作られている。
- より良い手法、プロセスを一緒に考え、常に改良していつている。（そのプロセスもPPI）
- 研修体制が充実している。
- 患者・市民の参画について、SNS等を活用し、周知が積極的になされ、認知が広がっている。
- 国外への発信活動（国際交流）が積極的に実施されている。

出所：医薬産業政策研究所にて作成

2.4.3.3 小括：英国 NICE における患者・市民の参画について

WEB サイトと掲載される年次報告書から、NICE で実行される PPI 取り組みについて概観した。わが国の新薬の薬価を決めるもしくは薬価制度を決める会議における議論について、国民の納得性を高める視点で、参考となる点を著者の私見として示した。

英国 NICE においては、国民の納得性を高める視点で、国民への周知はもとより国外への発信、研修体制の充実、客観性、透明性への配慮、参加者がやりがいを感じられるようよりより良い手法、プロセスを一緒に考え常に改良していくなど、まさに患者・市民をパートナーと考えた施策が有用な事例として示唆された。

2.4.4 小括

以上より、医薬品の価値等への国民の理解と PPI に関する現状、問題認識としては以下の通りである。

- 医薬品の価格や制度、価値への国民の理解向上の必要性
 - 医薬品の価格や制度への国民の意識・興味関心は低い一方で、非常に高い人は一部に限られている。一般に健康な若年層を中心に医療への関りが少ないと意識や興味関心が高まりにくい、高まる起点の一つには「理解」の深まりがあり、健康な人も含めた医薬品の価格や制度、価値へ理解の重要性が挙げられる。理解に資する説明やそれに基づいた理解が促進されることの重要性が浮き彫りとなったことから、わかりやすく伝えることも重要である。
 - 国民には医薬品について、医療的視点に基づく「医療的価値」に留まらず医薬品による治療等の波及効果として実現する「社会波及価値」についても認識、重視している人がいる。しかしながら、「社会波及価値」は特に十分に知られていないことから、医薬品の多様な価値についても知らせ届けていく必要がある。
- 患者視点の価値の認識、重要性の把握
 - 重視する医薬品の価値そのものが一律でなく疾患によって変わりうること、その疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が、重視する価値やその優先度を変える可能性がある。
- PPI の浸透に向けた、ステークホルダーの連携、患者・市民をパートナーと考えた施策の必要性
 - PPI の認知向上や PPI 活動への参加機会の提供に対し、製薬企業や患者発等の取り組みが多く実行されており、PPI は急速に浸透していく日が近い。一方で、一社一団体の力だけでは実現が難しい場合もあること等の課題が見えてきており、多くのステークホルダーが連携するに至っていないという現状がある。
 - 英国 NICE においては、国民の納得性を高める視点で国民への周知はもとより国外への発信、研修体制の充実、客観性、透明性への配慮、参加者がやりがいを感じられるようよりより良い手法、プロセスを一緒に考え常に改良していくなど、まさに患者・市民をパートナーと考えた施策が有用な事例として示唆された。

革新的な新薬の多様な価値が国民に届き続ける好循環がまわるために、医薬品の価値等への国民の理解の不足の実態を踏まえた対応が求められる。また、患者視点の価値の認識、重要性を考慮する必要がある。PPI の浸透に向けたステークホルダーの連携、患者・市民をパートナーと考えた施策も必要である。

3章 解決の方向性

2章にて革新的新薬の薬価算定ルールおよび薬価算定プロセス、価値エビデンスの創出、医薬品の価値等への国民の理解とPPIの4点について、現状、問題認識を述べてきた。

薬価算定ルールに関する現状、問題認識

革新的な新薬の多くが対象となる原価計算方式において構造上個々の新薬の価値を薬価に反映しにくい性質があり、わが国の算定薬価は特に、算定時に外国価格が参照リストでないもしくは必要な掲載数を満たさない等外国価格が参照できない場合には外国価格に比較し低い傾向にあること、有用性等の加算の程度（加算率）が類似薬効方式に比較し低い傾向にあることが示された。類似薬効比較方式、原価計算方式いずれにおいても審査報告書ベースの有用性の評価ゆえに、有効性や安全性を中心とした医療的な価値に基づく評価が主であり、例えば患者や家族の生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といったような社会に波及する価値は評価されにくい実態がある。これらの現状より、現行の薬価算定ルールにおいては、革新的な新薬の多様な価値が適切に評価されていないことを問題と認識する。

薬価算定プロセスに関する現状、問題認識

薬価算定プロセスにおいて限られた会議への極めて限られた患者の参画となっており、患者・市民参画の不足があり、患者を含めた公平な議論と合意決定がなされる仕組みではなく合意形成のゆがみがある。また、医薬品にどのような価値があるか、どのような理由、議論がなされて値付けがなされたか、国民にわかりやすい情報公開となっておらず透明性の欠如がある。これらの現状より、現行の薬価算定プロセスにおいては患者・市民の参画（PPI）ができておらず透明性の欠如もあり、国民の納得性には至っていないことを問題と認識する。

価値エビデンス創出に関する現状、問題認識

臨床試験におけるPROの活用等わが国の患者視点の医薬品の価値エビデンス創出は、欧米に比べて少なく限られており、限られた価値エビデンスの中には薬価収載までにQOLの改善等を示した事例があるものの現行の薬価制度では有用性系加算にはつながりにくい実態がある。また、フランス（HAS）では医薬品の評価の土壌に生活の質（QOL）を載せることが一般的であり、患者や家族の声が公的に収集され価値評価の議論の俎上に挙げられていることが示唆された。これらの現状より現行の価値エビデンス創出においては、患者や家族の声を生かした最大限の価値エビデンス創出ができていないことを問題と認識する。

医薬品の価値等への国民の理解とPPIに関する現状、問題認識

医薬品の価格や制度を含む価値への国民の興味関心は、低くない一方で非常に高い人は一部に限られている等理解の不足がある。また、一般に健康な若年層を中心に医療への関りが少ないと意識や興味関

心が高まりにくいが高まる起点の一つには「理解」の深まりがあり健康な人も含めた理解の重要性が挙げられ、そのためにわかりやすく伝えることが重要である。また、医薬品の価値においては特に社会に波及する多様な価値について、いまだ十分に知られていない。

PPI においては、わが国でも近年盛んになりつつある最新動向として、製薬企業や患者発等のこれまでなかった新しい取り組みが多く実行されており認知向上、浸透が加速している。一方で一社一団体の力だけでは実現が難しい場合もあること等の課題が見えてきており、多くのステークホルダーが連携するに至っていない現状がある。また、英国 NICE においては国民の納得性を高める視点で国民への周知はもとより国外への発信、研修体制の充実、客観性、透明性への配慮、参加者がやりがいを感じられるようより良い手法、プロセスを一緒に考え常に改良していくなど、まさに患者・市民をパートナーと考えた施策が有用な事例として示唆された。これらの現状より、医薬品の多様な価値等を広く国民にわかりやすく伝え届ける必要があること、理解に向けて患者、患者団体、医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダーの連携、協働が十分でないことを問題と認識する。

これらの現状、問題認識を踏まえ、国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿、多様な価値に基づく値付けと価値評価への患者・市民の参画（PPI）に向け、解決の方向性として新たに【**価値説明方式**】と【**客観性や透明性が高く、かつ患者・市民と共に意思決定するプロセス**】を提言する。

3.1.1 価値説明方式

3.1.1.1 価値説明方式の考え方と仕組み

これまで原価計算方式による算定がなされた革新性の高い新薬の薬価算定には、当該医薬品の価値についての最も体系的なデータを開発、提示することができる企業がその価値を説明する方式【**価値説明方式**】をとる。

価値説明方式とは臨床試験による PRO の収集を含む薬価算定までに得られた多様な価値エビデンスを基に、企業が価値という根拠に基づく算定案を作成し国民に説明をするものである。

医薬品の価値とは有効性や安全性を中心とした医療的な価値だけでなく、生産性や社会復帰・復職、介護負担の軽減、医療従事者の負担軽減といった社会に波及する価値も含み多様である。また、多様な価値は医薬品の進化により変わりゆくこと、価値の受け手である国民、特に患者や家族等の疾患の当事者にしかわからない重みや価値観があること、患者の声等必ずしも測れない価値もあるが、【**価値説明方式**】は柔軟に個々の新薬固有の価値を評価する仕組みである。

企業による価値の根拠の説明においては、わが国と同時もしくは間もなく掲載されるであろう諸外国での価値評価結果や算定案も含めることとする。合わせて患者や家族の声を公的に収集できる仕組みを整え、医薬品の審査や価値の評価等に幅広く生かすことで、患者や家族の真のアンメットニーズに応える革新性の高い新薬をわが国で率先して患者に届けることができると考える。

3.1.1.2 国民への説明と納得性

新薬の価値やその評価結果について国民に十分かつ分かりやすく説明する必要がある。如何にわかり

やすく伝え届けていくかという観点では、レイサマリーの概念やわが国での「レイサマリー作成の手引き」の内容、作成過程を模範としゼロベースで患者や市民と共に作っていくべきである。

医薬品の価値だけでなく価格や制度など医薬品に関連する意識や興味関心、理解も高めなければならない実態があることから、国民の理解に向けて患者、患者団体、医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダーの連携、協働が必須である。英国 NICE のよりより良い手法、プロセスを一緒に考え常に改良していくなど、まさに患者・市民をパートナーと考えた施策が有用であり参考となる。

3.1.1.3 価値エビデンスの創出

革新的な新薬について、製薬企業はこれまで以上に価値エビデンスを早期にかつ積極的に創出する必要がある。そのために臨床試験における PRO の活用を促進するもしくは患者や家族の声を積極的に収集する等、患者視点を含む医薬品の多様な価値エビデンスを薬価収載までに最大限収集しなければならない。すなわち、製薬企業は臨床試験のみならず全ての医薬品の開発過程において患者の参画を可能とする役割を担うことが必要である。また、医薬品開発への患者の参画をより一層促進するためには、患者・市民の医療や薬価に関する制度を含むヘルスケア全般への理解の向上も求められ、製薬企業の働きかけに加えて、国レベルで教育や啓発の施策の必要性もあるだろう。

3.1.2 客観性や透明性が高く、かつ患者・市民と共に意思決定するプロセス

客観性や透明性、国民の納得性を高める観点で、企業の説明だけでなく第三者組織による価値評価、算定案の作成と結果の公表を同時並行で行うプロセスとする。

プロセスの一案としては、第三者組織による価値評価並びに算定案の作成については企業側の説明とは独立して実施されるものであり、わが国の指針となる価値評価の体系または基準を示した上で実施されることが望ましいと考える。

企業が説明する算定案と第三者組織による算定案を基に適切な公開の場で議論し、価値に見合う価格を議論、決定することで客観性、透明性を高め国民の理解を深めていく。患者や市民は医薬品の価値の享受者であり皆保険制度で成り立つわが国の医療保険制度上制度を支える者でもあることから、第三者組織による価値評価のプロセスおよび価格を議論、決定する場の両方に患者や市民が参画し共に意思決定する必要がある。

英国 NICE も参考にプロセス、会議あたり 2 人以上の患者や市民の参加を規定し WEB サイトから広く公募、公平な選定ができる体制とする。患者や市民を固定せず、患者一般の声をより適切に反映できるようにする。委員となる患者や市民がやりがいをもって参加でき適切な意見を述べられるよう基礎的教育がなされている、そして社会のステータスとなるような環境を整えていくことで参加者が共に意思決定していると感じられるようにしなければならない。

革新的な新薬の価値評価のプロセスでは、収載までの間に新たに患者や市民を含めた第三者組織による価値評価、算定案の作成と結果の公表を行い、公平な議論と合意決定をする必要がある。そのため、60 日ルールに則りつつ柔軟な運用の範囲内にある 90 日を承認から収載までの標準期間とし、薬価収載時期は年 4 回と固定せずにフレキシブルとすることでいつでも薬価収載ができるようにすることも一案である。

なお、表 21 に、価値評価のプロセス一案を現既存の薬価算定プロセスとともに記載する。

本稿では革新的な新薬の収載時薬価と収載までのプロセスに問題意識を持ちここに焦点を当てて述べてきたことから、収載時以降に得られた価値エビデンスの薬価への反映方法や改定等について財源とのバランスを鑑みた検討等が別途必要である。

表 21 価値評価のプロセス一案

既存の薬価算定プロセス		価値評価のプロセス一案※1 (革新的な新薬に限定、価値説明方式の場合)
薬事承認		薬事承認
薬価収載申請 (薬価収載希望書)		薬価収載申請 (多様な価値に基づく薬価算定案の提示※2)
第1回薬価算定組織 (意見表明を希望する収載希望者の意見表明あり)		第三者組織※3 (価値評価、算定案の作成と結果の公表※4)
算定案の通知		患者・市民を含めた公開の場※3で 価値に見合う価格を議論、決定する (合意に至るまで、繰り返し実施する)※5
不服なし	不服あり	
	不服意見書提出	
	第2回薬価算定組織	
	検討結果の通知	
中医協総会に算定案の報告・了承		国民に分かりやすく説明する※6
薬価収載 (年4回)		薬価収載 (フレキシブル※5)

※1：国民の理解に向けて患者、患者団体、医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダーの連携、協働が必須であり、より良い手法、プロセスを一緒に考え常に改良していく。

※2：臨床試験によるPROの収集を含む薬価算定までに得られた多様な価値エビデンスを基に、企業が価値根拠に基づく算定案を作成。わが国と同時にしくは間もなく収載される諸外国での価値評価結果や算定案、患者や家族の声（公的に収集）を生かす。

※3：プロセス、会議あたり2人以上の患者や市民の参加を規定し、患者や市民を固定せず、患者一般の声をより適切に反映できる、共に意思決定できる仕組みを構築する。

※4：企業側の説明とは独立して実施されるものであり、わが国の指針となる価値評価の体系または基準を示した上で実施されることが望ましい。

※5：60日ルールに則りつつ柔軟な運用の範囲内にある90日を承認から収載までの標準期間とし、薬価収載時期は年4回と固定せずにフレキシブルとすることでいつでも薬価収載ができるようにすることも一案である。

※6：如何にわかりやすく伝え届けていくかという観点では、レイサマリーの概念やわが国での「レイサマリー作成の手引き」の内容、作成過程を模範としゼロベースで患者や市民と共に作る。

出所：医薬産業政策研究所にて作成

おわりに

医薬品の多様な価値の評価により価値に基づく値付けがなされる。そして研究開発が促進しその水準がさらに高まることで、より幅広い価値エビデンスが創出される。創出された多様な価値が国民に届き続ける好循環となることこそ、本来国民に納得をもたらすものである。

このような考えの下本稿では、国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿は、革新的な新薬の多様な価値に基づく値付けがなされることと価値評価への患者・市民の参画（PPI）がなされることであると考え、現状や問題認識、解決に向けた方向性を示してきた。

著者は医薬産業政策研究所にて、医薬品の価値に纏わる 2 度のイベント「医薬品の価値ワークショップ」（2021 年 10 月実施）、「医薬品の価値フォーラム」（2023 年 8 月実施）の企画・運営に携わる機会をいただいた。合わせて 1,000 人を超える多数の方にご参加をいただいた。少なくとも製薬関連企業を中心に、医薬品の価値への関心は高いものと思われる。

そしてイベントにご参加いただいたアカデミアの五十嵐中氏（横浜市立大学医学部 公衆衛生学教室 准教授、東京大学大学院薬学系研究科 医薬政策学 客員准教授）、患者の桜井なおみ氏（キャンサー・ソリューションズ株式会社 代表取締役社長）からは、以下のご示唆をいただいた。

10 年前との国民の認識の変化について尋ねた際アカデミアの立場である五十嵐氏からは、中医協委員に説明すればよかった 10 年前に対し今は国民に説明をし、納得してもらわないといけないという変化があることが示された。また、製薬産業とアカデミアの価値の認識を高めていくためのアクションでは、価値を理解してもらいたい相手が増えたからこそより平易な言葉で説明することの重要性が挙げられた。

患者にとって医薬品等の認識がどのようにかわってきたかについて尋ねた際患者の立場である桜井氏からは、医薬品の処方や服用がどこか他人事（受け身）であった過去に比べ今は異なっていること、かつては病状が厳しかったような患者も社会復帰ができるといったより幅広い医薬品の効能や価値を感じられるようになったことが挙げられた。また、認識を高めていくために産業界と患者で取り組んでいくことや課題等について尋ねると、患者団体も含め製薬産業などステークホルダー皆が継続して議論していくことの重要性が述べられた。

つまり“10 年もあれば価値や価値の受け手、環境等様々な面で大きな変化がある”からこそ“関わる皆で継続した議論を行う必要がある”ということであると、著者は捉えている。

また、研究に際しご助言を賜った中山和弘氏（聖路加国際大学大学院看護学研究科 看護情報学分野教授）の言葉を拝借すると、医薬品の価値や薬価及び薬価制度についても大きくはヘルスリテラシーの一要素として本来は「誰もがつける力」なのであろう。「真に国民に医薬品の価値をとどける施策」という課題に対し明確なアイディアは示せていないが、こうした点も皆が一緒になって継続した議論を行っていくことが重要と言える。

人生 100 年時代において国民と薬価は決して遠い存在ではない。国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度に向けてまずは革新的な新薬の多様な価値が国民に届き続ける好循環がまわるよう、本稿で示した解決の方向性も一案に検討が進み革新的な新薬の多様な価値に基づく値付けがなされ、価値評価への患者・市民の参画（PPI）がなされることを期待する。

主な参考文献

- 1) 日本製薬団体連合会（2022）「令和 4 年度診療報酬改定・薬価改定及び薬価算定の基準の改正について」保険薬価研究委員会
- 2) 関西医薬品協会（2022）「医療保険制度の概要と薬価基準（令和 4 年度改訂版）」
- 3) 厚生省 50 年史編集委員会編（1998）「厚生省 50 年史」厚生問題研究会
- 4) 厚生省（1985～1988）「厚生白書」（昭和 60 年版～昭和 63 年版）
- 5) 日本製薬工業協会編（1988）「製薬協 20 年の歩み」日本製薬工業協会
- 6) 日本製薬工業協会編（2018）「製薬協 50 年の歩み」日本製薬工業協会
- 7) 日本製薬団体連合会編（1999）「日薬連 50 年誌」日本製薬団体連合会
- 8) 大阪医薬品協会（1998）「50 年の軌跡」大阪医薬品協会
- 9) 医療経済研究機構（2023）「薬剤使用状況等に関する調査研究報告書（令和 4 年度）」
- 10) 厚生労働省（2023）「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」
- 11) 五十嵐 中（2022）「価値に基づく医療システムの構築に向けて」
- 12) 今井優也・成川衛（2022）「日本における新薬開発遅延の背景に関する研究」RSMP vol.12 no.3, 235-245, Sep 2022
- 13) 高山茜・成川衛（2016）「新薬の薬価算定における有用性加算および営業利益率の加算的補正の予見性」RSMP vol.6 no.2, 119—126, May 2016
- 14) 中山和弘（2022）「これからのヘルスリテラシー 健康を決める力」講談社
- 15) 桜井 なおみ（2018）「患者目線からみた費用対効果評価—費用対効果評価は患者にとって朗報なのか—」薬剤疫学 Jpn J Pharmacoepidemiol, 23（1）、Jan 2018
- 16) 山口育子（2018）「賢い患者」岩波新書
- 17) HGPI（2022）政策提言「政策形成過程における患者・市民参画のさらなる推進に向けて」
- 18) 患者目線で革新的医療政策実現を目指すパートナーシップ（2022）「患者・市民の医療政策への参画に関する提言」
- 19) 印南一路（2021）「薬価制度改革の政策評価に関する研究 I（改訂版）」医療経済研究機構
- 20) 小黒 一正・菅原 琢磨（2018）「薬価の経済学」
- 21) 中野陽介ら（2022）「医薬品の多様な価値—国民視点および医療環境変化を踏まえた考察—」医薬産業政策研究所、リサーチペーパー・シリーズ No.79
- 22) 中野陽介ら（2021）「医薬品の社会的価値の多面的評価」医薬産業政策研究所、リサーチペーパー・シリーズ No.76
- 23) 小林 和道（2015）「Patient-Centered の促進に伴う Patient Reported Outcome の新薬開発への適用に関する研究」医薬産業政策研究所、リサーチペーパー・シリーズ No.64
- 24) 田村浩司（2020）「患者視点から「医薬品の価値」をあらためて考える」医薬産業政策研究所、リサーチペーパー・シリーズ No.75
- 25) 藤原 尚也ら（2005）「新薬の価値を反映する薬価制度」医薬産業政策研究所、リサーチペーパー・シリーズ No.28
- 26) 日本製薬工業協会（2023）「製薬協 政策提言 2023」
- 27) 日本製薬工業協会（2023）「第 17 回くすりと製薬産業に関する生活者意識調査」
- 28) 日本製薬工業協会 産業政策委員会（2023）、「難病・希少疾患に関する提言」

謝辞：本リサーチペーパー執筆にあたり、医薬産業政策研究所の山田所長、長岡研究顧問、飯田統括研究員には、ひとかたならないご指導・ご鞭撻を賜り、心から御礼申し上げます。また、貴重なご助言や励ましの言葉をくださった、主任研究員、関係の皆様には特別な感謝を捧げる。

2024年3月

著者 吉田 晃子

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町 2-3-11 日本橋ライフサイエンスビルディング 7F

Tel: 03-5200-2681 Fax: 03-5200-2684

<https://www.jpma.or.jp/opir/>