

日本における申請ラグの現状調査に関するアンケート報告書

令和8年3月

日本製薬工業協会
薬事委員会

目次

1. はじめに	3
2. 調査票	6
2.1 第8回調査	6
2.1.1 調査項目	6
2.1.2 集計方法	7
3. 調査結果及び考察	8
3.1 調査I	8
3.1.1 基本情報	8
3.1.2 申請タイプ別の要因	9
3.1.3 申請ラグ	12
3.1.4 中国の申請ラグ	20
3.2 調査II	22
3.2.1 申請ラグのタイプ	22
3.2.2 申請タイプ別の要因	23
3.2.3 申請ラグの順位グラフ	25
4. まとめ	29
4.1 調査I	29
4.2 調査II	31
5. 謝辞	34

1. はじめに

「世界最高水準の医薬品・医療機器を国民に提供」、「医薬品・医療機器産業を日本の成長牽引役に」を合言葉として、内閣府・文部科学省・厚生労働省及び経済産業省が連名で平成 19 年に発表した『革新的医薬品・医療機器創出のための 5 か年戦略』では、施策のひとつとして「審査の迅速化・質の向上」を掲げ、審査人員の拡充・質の向上や承認審査における国際共同治験への対応強化等さまざまな対策が講じられてきた。医療イノベーション会議（事務局：内閣官房医療イノベーション推進室）が平成 24 年に発表した『医療イノベーション 5 か年戦略』では、前記 5 か年戦略を振り返り、ドラッグ・ラグの短縮につながる体制が整備される等一定の成果が見られたことが述べられている。さらに、平成 26 年 6 月 14 日に閣議決定された『日本再興戦略』では、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、総合機構）の体制を強化して医薬品等の審査を迅速化し、令和 2 年（2020 年）までに審査ラグを解消するという成果目標が記載されている。また、既に欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品については、「未承認薬使用問題検討会議」及び「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」を通じてドラッグ・ラグ及びドラッグ・ロスの解消が図られてきた。

総合機構が平成 26 年に報告した『平成 25 事業年度の業務実績報告書』において、総合機構による新有効成分含有医薬品のドラッグ・ラグの調査では、平成 24 年度の開発ラグ（本アンケート調査における「申請ラグ」と同義）は検討会議品目を含めても 0.3 年で、審査ラグ 0 年とあわせ、ドラッグ・ラグは 0.3 年と試算され、ラグはほぼ解消したようにみえると報告された。また、平成 26 年度からの第 3 期中期計画においては、審査ラグ「0」の実現を目指し、目標審査期間の目標達成率を従来の 50%（中央値）から、平成 30 年度までに段階的に 80%タイル値に引き上げると報告され、『平成 30 事業年度及び中期目標期間業務実績報告書』においては、計画を上回る高い実績を上げていると報告された。総合機構から公表された、令和 6 年度までのデータを含めた最新のドラッグ・ラグの試算を表 1 に示す。令和 4 年度における開発ラグは 0.4 年、審査ラグは 0 年であり、ドラッグ・ラグは 0.4 年であったが、令和 5 年度においては、開発ラグは 1.3 年、審査ラグは 0 年であり、ドラッグ・ラグは 1.3 年と開発ラグが拡大していた。令和 5 年度で開発ラグが拡大した理由としては、例年に比べて新有効成分含有医薬品の割合が多かったこと、また米国で承認申請後、1 年以上日本で承認申請されなかった品目が増加したことが挙げられた。また、令和 6 年度においては、開発ラグは 2.0 年、審査ラグは 0 年であり、ドラッグ・ラグは更に拡大をしていた。背景として、長くドラッグ・ロス状態になっていた医薬品に係る承認申請が行われたこと等が挙げられた。

表 1 新有効成分含有医薬品に係る申請年度ごとのドラッグ・ラグ試算（総合機構公表資料）

	平成 23 年度	平成 24 年度	平成 25 年度	平成 26 年度	平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	令和 元年 度	令和 2 年度	令和 3 年度	令和 4 年度	令和 5 年度	令和 6 年度
開発ラグ	1.5 (0.4)	0.3 (0)	1.0 (0.3)	1.1 (0.6)	1.7 (1.0)	1.0 (0.9)	0.2 (0.3)	0.7 (0.7)	0.5 (0.4)	0.5 (0.5)	0.3 (0.3)	0.4 (0.4)	1.3 (1.2)	2.0 (2.0)
審査ラグ	0.1	0	0.1	0	0	0	0.2	0.2	0.1	0.2	0.1	0	0	0
ドラッグ・ラグ	1.6 (0.5)	0.3 (0)	1.1 (0.4)	1.1 (0.6)	1.7 (1.0)	1.0 (0.9)	0.4 (0.5)	0.9	0.6	0.7	0.4	0.4	1.3	2.0

単位：年

(注 1)

開発ラグ：当該年度に国内で新規承認申請された新薬について、米国における申請時期との差の中央値

審査ラグ：当該年度（米国は暦年）における日米間の新薬の新規承認された総審査期間（中央値）の差

平成 23 年度までの数値は、「CDER User Performance & New Drug Approvals 2011」のデータを使用。平成 24 年度以降の数値は当該データが公表されていないため、FDA の New Molecular Entity (NME) Drug and New Biologic Approvals に掲載されている品目から総審査期間（中央値）を算出した値を使用

ドラッグ・ラグ：開発ラグと審査ラグの和

※なお、表中（ ）内の数値は、検討会議品目を除いた場合の値を参考までに示したもの。検討会議品目は、厚生労働省において開催された「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における検討結果を受けて申請された品目をいう。

令和 4 年 8 月～令和 5 年 6 月に開催された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」においては、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消についても議論され、国際共同治験の推進や治験環境の整備、薬事関連の対応、海外へのプロアクティブな情報発信等が施策として挙げられている。ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスに関する薬事関連の対応については、令和 5 年 7 月より開始された「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」において継続して議論され、開発促進策として希少疾病用医薬品指定の在り方や小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査の在り方、臨床試験に関する施策として我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理等について議論された。

日本製薬工業協会（以下、製薬協）薬事委員会では、申請ラグの実態とその要因把握のため、平成 19 年度以降に承認された医薬品を対象として、申請ラグに関してこれまで計 7 回のアンケート調査を実施した。その結果、新有効成分含有医薬品については、世界同時開発の企業方針や国際共同治験の普及を背景に、全体として申請ラグは短縮する傾向にあることが認められた。さらに、これらの調査結果を踏まえ、新有効成分含有医薬品を対象として第 8 回の調査を実施することとした。総合機構と製薬協のラグ調査・解析方法の差異を表 2 に示す。総合機構の調査では審査の観点も含め、開発ラグと審査ラグの数値を集計している。一方で、製薬協は開発ラグ（本報告書で定義した申請ラグ）に着眼し調査を行っている。また、調査対象なども異なるため、単年度の直接の数値比較は困難である。

表 2 総合機構と製薬協のラグ調査・解析方法の差異

	総合機構	製薬協
ラグの定義	<ul style="list-style-type: none"> ・開発ラグ（本アンケート調査における「申請ラグ」と同義） ・審査ラグ 	<ul style="list-style-type: none"> ・申請ラグ
調査対象品目	新規承認申請された <u>全て</u> の新有効成分含有医薬品を調査	製薬協加盟会社 が申請し承認された新有効成分含有医薬品を調査
調査の対象とした情報	各年度の <u>申請</u> 品目を対象 申請 <u>日</u> を使用	各年度の <u>承認</u> 品目を対象 申請 <u>月</u> を使用
ラグ算出の比較対象国	海外の比較国は <u>米国</u> を対象として、開発ラグ及び審査ラグを調査し、これらの和からドラッグ・ラグを算出	海外の比較国は <u>米国及び欧州</u> を対象とし、いずれか申請が早い方と日本の申請のラグを算出

これらを背景に、今回、令和4年（2022年）4月～令和6年（2024年）3月に承認された品目の申請ラグに関する第8回アンケート調査を実施した（調査Ⅰ）。

また、昨年に引き続き同期間に小児適応に関連する承認を取得した新医薬品についても調査を実施した（調査Ⅱ）。なお、小児適応に関する調査においては、成人と異なり調査実績が限られることから、より広い情報を収集して検討するために、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議品目のうち臨床試験を実施した品目を調査対象に含めることとし、公知申請の品目のみを調査対象から除外することとした。

当該アンケート調査では製薬協薬事委員会及び医薬品評価委員会所属企業（計70社）に回答を依頼した。調査Ⅰについては令和4年4月～令和6年3月に承認された新有効成分含有医薬品59品目について回答を得た。そのうち未承認薬・適応外薬検討会議品目を除いた56品目を集計対象品目とした。調査Ⅱについては、令和4年4月～令和6年3月までに小児適応に係る承認を取得した新医薬品61品目を集計対象品目とした。項目としては個々の品目の疾患領域等の背景情報と日本及び米国・欧州での承認申請時期、さらに申請ラグが生じる原因について、各企業の考えを調査した。

なお、調査実施期間は令和6年12月20日～令和7年1月24日であり、Web上で回答を収集した。

2. 調査票

2.1 第8回調査

第8回調査では、令和4年（2022年）4月～令和6年（2024年）3月までに承認された新有効成分含有医薬品（新有効性成分含有医療用配合剤を含む）（調査Ⅰ）及び小児適応に関連する承認を取得した新医薬品（調査Ⅱ）の申請ラグについてアンケート調査を実施した。

2.1.1 調査項目

以下の内容について、品目ごとに調査した。（調査票は別添1参照）

2.1.1.1 調査Ⅰ

- 基本情報

企業名、販売名、一般名、疾患領域、承認年月日、欧米を含む国際共同第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）への日本の参加の有無、アジア第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）への日本の参加の有無、欧米を含む国際共同第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）への中国の参加の有無、アジア第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）への中国の参加の有無、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（以下、検討会議）品目の該当性

- 申請企業、シーズ、申請時期及び審査等に関する情報

申請企業国籍、シーズの創出国、自社創出・導入品の別（導入品の場合には、導入元の国籍、導入元のタイプ、導入時期についての情報も収集）、日・米・欧・中の申請・承認に関する情報、審査区分、早期承認制度に関する情報、オーファン指定に関する情報

- 該当品目の日米欧での承認申請の状況

各品目の申請ラグのタイプ（「欧米での承認申請が先行」、「日本での承認申請が先行」、「国内外同時承認申請」、「海外ではまだ承認申請されていない」、「海外では開発していない」）、その要因及び重要度

なお、本調査は、これまでの調査結果と比較するために、便宜的に日本での承認申請が欧米（いずれか早い方）より1年以上遅れたものを「欧米での承認申請が先行（欧米先行）」とし、逆に1年以上早いものを「日本での承認申請が先行（日本先行）」、差が1年未満の場合を「国内外同時承認申請（同時申請）」と定義した。それ以外に、海外でも開発は行われているが、まだ承認申請されていない場合を「欧米未申請」、海外では開発されていないものを「欧米未開発」とした。

2.1.1.2 調査Ⅱ

- 基本情報1

企業名、販売名、一般名、疾患領域、承認年月日、検討会議品目の該当性、欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験（又はピボタル試験）への日本の参加の有無、アジア第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）への日本の参加の有無

- 申請企業、シーズ、申請時期及び審査等に関する情報

申請企業国籍、創出国、自社創出・導入品の別（導入品の場合、導入元の国籍、導入元のタイプ、導入時期）、日・米・欧における小児適応及び成人適応の申請・承認に関する情報、審

査区分、オーファン指定に関する情報、特定用途医薬品指定に関する情報、早期承認制度に関する情報

- 該当品目の日米欧での（小児適応の）承認申請の状況

各品目の小児適応の申請ラグのタイプ（「欧米先行」、「日本先行」、「同時申請」）、その要因及び重要度

なお、「欧米先行」、「日本先行」、「同時申請」の定義は調査Ⅰと同じとした。調査対象には、（１）新有効成分含有医薬品、（２）新医療用配合剤、（３）新投与経路医薬品、（４）新効能医薬品、（５）新剤形医薬品、（６）新用量医薬品の申請区分の品目を含み、公知申請品目は対象外とした。なお、対象品目を精査するために、「本調査への該当性」に関する設問を設けて、「該当しない」と記載されている品目は本集計対象から除外した。

2.1.2 集計方法

- 申請ラグ

令和４年４月～令和６年３月までに承認された各品目の「日本と米国」及び「日本と欧州」の承認申請時期の差を算出し、差の大きい方の値を各品目の申請ラグとした。この値を用いて主要要約統計量として、申請ラグの中央値を算出した。

3. 調査結果及び考察

3.1 調査 I

3.1.1 基本情報

3.1.1.1 申請ラグのタイプ

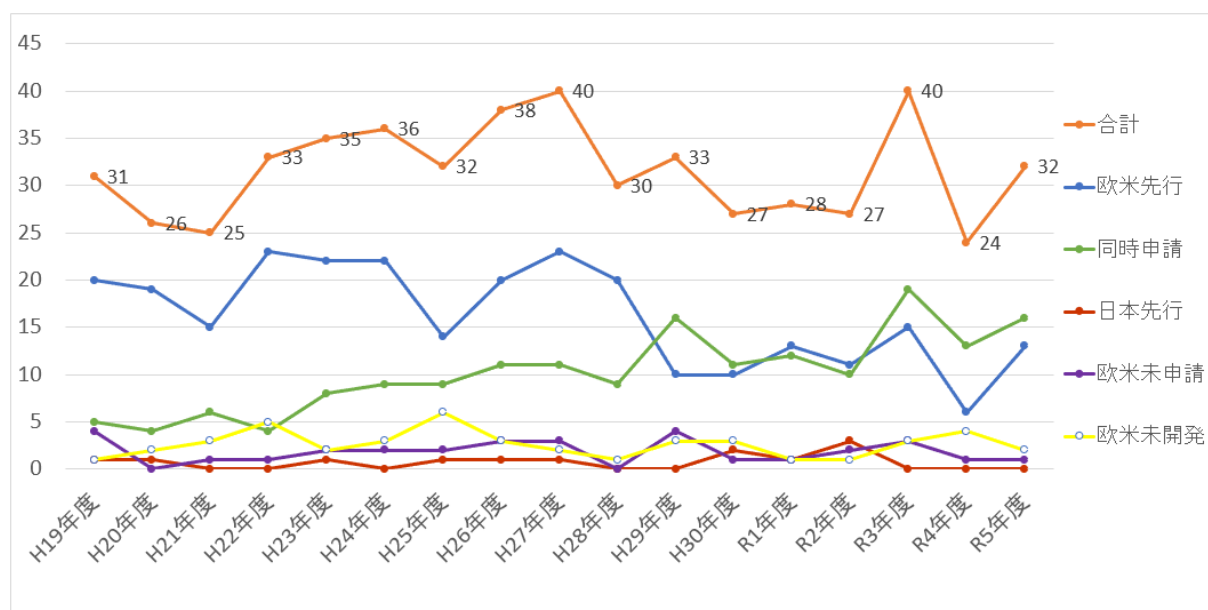
申請ラグのタイプを日本と欧米との申請時期の関係等により表 3 の 5 つに分類した。解析対象 56 品目のうち、同時申請が 51.8% (29/56) で過半数を占めた。次いで欧米先行が 33.9% (19/56) であった。同時申請と欧米先行の両者で全体の 8 割以上を占めており、両タイプの申請が主流であった。なお、日本先行タイプの品目はなかった。

表 3 申請ラグのタイプ

	申請ラグのタイプ		品目数
1	欧米先行	欧州又は米国の承認申請が日本より 1 年以上早い	19 (33.9%)
2	日本先行	日本の承認申請が欧州又は米国より 1 年以上早い	0 (0.0%)
3	同時申請	日本、欧州、米国の承認申請日の差が 1 年未満	29 (51.8%)
4	欧米未申請	海外ではまだ承認申請されていない	2 (3.6%)
5	欧米未開発	海外では開発されていない	6 (10.7%)
	合計		56

申請ラグタイプ別の経年推移を図 1 に示した。これまでの傾向と大きな差はなく、日本先行品目数が少ないことには変わりはない（今回調査では 0 品目）。同時申請品目数は増加傾向を示し、令和 3 年度以降は 3 年連続で同時申請が最も多かった。なお、同時申請の品目のうち申請ラグが 6 ヶ月以内であった品目は第 7 回調査（令和 2 及び 3 年度承認品目）では 79.3%、第 8 回調査（令和 4 年及び 5 年度承認品目）では 93.1%と増加しており、今回の調査では同時申請品目のうち殆どが欧米の申請から 6 ヶ月以内に申請されていた。

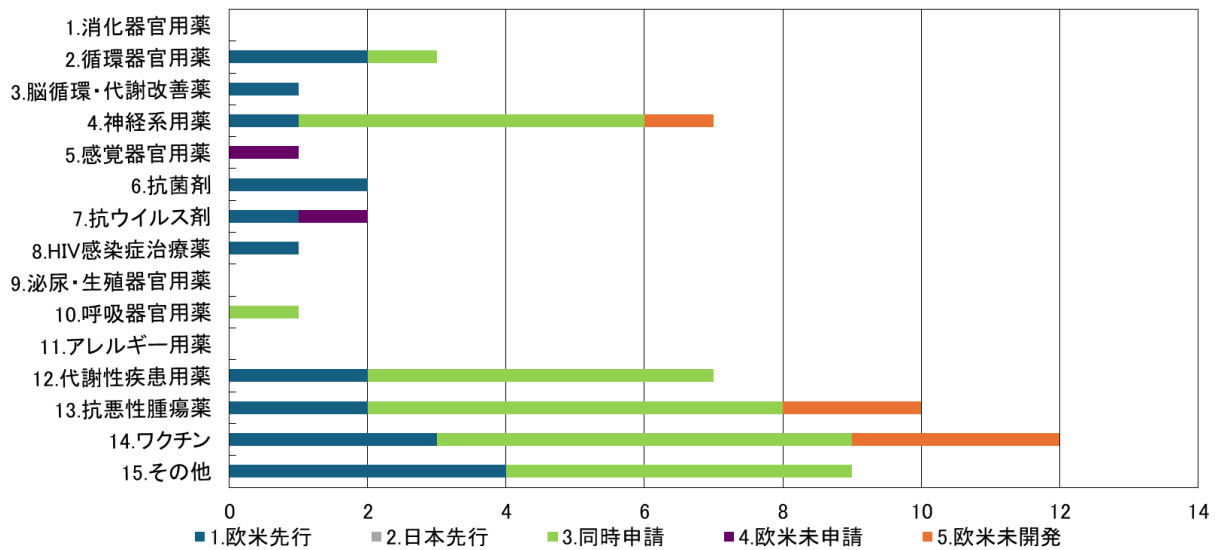
図 1 申請ラグタイプ別の経年推移



3.1.1.2 疾患領域別品目数

疾患領域別の承認品目数を図 2 に示した。

図 2 疾患領域別承認品目数



*15.その他に分類される対象疾患：血液系疾患等

複数品目が承認された疾患領域のうち、欧米先行品目の割合が高かった領域は抗菌剤（100%）及び循環器官用薬（66.7%）であった。一方で、同時申請品目の割合が高かった領域は、神経系用薬、代謝性疾患用薬（71.4%）、抗悪性腫瘍薬（60.0%）であった。各領域における品目数が限られるため明確な結論は得られないが、承認品目数が多い疾患領域（6品目以上）では、いずれも同時申請が半数以上を占め、積極的な同時開発が行われている傾向がみられた。一方で承認品目数が少ない疾患領域（5品目以下）で集計したところ、同時申請の割合は低く（18.2%）、欧米先行の割合が高かった（63.6%）。

3.1.2 申請タイプ別の要因

欧米先行、日本先行（欧米未申請含む）及び同時申請の申請タイプについて、要因例を設問で提示し、要因ごとに重要度（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）について回答を得た。要因ごとに「重要」の回答数を集計した。なお、欧米未開発については、要因を調査していない（別添1 調査票参照）。

3.1.2.1 欧米先行

欧米先行の19品目（未承認薬・適応外薬検討会議品目を除く）について、欧米先行となった要因として「重要」と回答された項目を表4に示した。

表 4 欧米先行となった主な要因

順位	欧米先行となった要因	「重要」の回答数
1	国内治験開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため	13
2	市場性、事業性の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため： ・国内の対象患者数が少なく、欧米の患者数が多い ・開発スピードと上市時期を重視した ・日本における薬価面の懸念があり、ビジネスとしての魅力が低かった	4
3	日本の開発組織体制が不十分、要員や開発資金の不足により、国内開発に時間を要したため	1
	その他	3

欧米先行の主な要因として、「国内治験開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」を「重要」と回答した品目が最も多く 68.4%（13 品目）であった。続いて、「市場性、事業性の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため」（21.1%（4 品目））が二番目に多かった。

その他、「重要」との回答はなかったものの、「欧米において、開発・承認促進の薬事制度を利用できたため」については「やや重要」と回答したものが 2 品目あった。

承認品目数が少ない疾患領域（5 品目以下）で欧米先行の割合が高かったことから、承認品目数が少ない疾患領域及び多い疾患領域について、それぞれ欧米先行となった要因として「重要」と回答された項目を表 5 に示した。

表 5 承認品目数が少ない／多い疾患領域でそれぞれ欧米先行となった要因

欧米先行となった要因	「重要」の回答数	
	承認品目数が少ない疾患領域*1	承認品目数が多い疾患領域*2
国内治験開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため	3	6
市場性、事業性の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため： ・国内の対象患者数が少なく、欧米の患者数が多い ・開発スピードと上市時期を重視した ・日本における薬価面の懸念があり、ビジネスとしての魅力が低かった	1	3
その他	2	0

*1: 循環器官用薬、脳循環・代謝改善薬、抗菌剤、抗ウイルス剤、HIV 感染症治療薬（計 7 品目）

*2: 抗悪性腫瘍薬、神経系用薬、代謝性疾患用薬、ワクチン（計 8 品目）

承認品目数が少ない疾患領域では、海外で先行して治験が開始あるいは承認されていたことを選択する回答が比較的少なかった。また、「その他」の中には、「日米欧の規制当局に同じ申請計画に関する相談を行った結果、欧州のみ早期申請する計画が受け入れ可能との見解を得た」との回答、また抗 HIV 薬の迅速承認制度に関するものがあった。

また、承認品目数が少ない／多い疾患領域別で、導入品・自社創出品の割合、及びそれぞれにおける欧米先行品目の割合を表 6 に示す。

表 6 承認品目数が少ない／多い疾患領域での導入品・自社創出品の割合及びそれぞれにおける欧米先行品目の割合

	品目数(割合)			
	全体	承認品目数が少ない疾患領域	承認品目数が多い疾患領域	その他の疾患領域*
調査対象全品目	56	11	36	9
導入品	20 (35.7%)	6 (54.5%)	13 (36.1%)	1 (11.1%)
導入品での欧米先行割合	11/20 (55%)	4/6 (66.7%)	6/13 (46.2%)	1/1 (100%)
自社創出品	36 (64.3%)	5 (45.5%)	23 (63.9%)	8 (88.9%)
自社創出品での欧米先行割合	8/36 (22.2%)	3/5 (60%)	2/23 (8.7%)	3/8 (37.5%)

*：疾患領域として「その他」が選択された品目（血液疾患用薬、外皮用薬等）

承認品目数が少ない疾患領域における導入品の割合（54.5%）は、承認品目数が多い疾患領域における導入品の割合（36.1%）に比べて導入品の割合が多く、欧米先行品目の多さの一因と考えられる。一方で、承認品目数が少ない疾患領域では、自社創出品であっても、欧米先行品目の割合（60%）は承認品目数が多い疾患領域（8.7%）に比べて高い状況がうかがえる。

3.1.2.2 日本先行（欧米未申請）

今回、日本先行の品目はなかったが、欧米未申請が2品目あったため、欧米未申請となった要因のうち「重要」とされた項目を表7に示した。

表 7 日本先行（欧米未申請）の主な要因

順位	欧米未申請の要因	「重要」の回答数
1	日本において開発・承認促進の薬事制度（先駆的医薬品指定制度等）を利用できたため	1
1	国内創出品であり、開発着手が欧米よりも早かったため	1
1	国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため	1
1	その他（開発会社での方針で、欧米での申請を見送ったため）	1

3.1.2.3 同時申請

同時申請を行った品目は29品目であった。同時申請が可能となった要因として「重要」と回答された上位8項目を表8に示した。

表 8 同時申請が可能となった主な要因（上位8項目）

順位	同時申請が可能となった要因	「重要」の回答数
1	国際共同治験への参加や同時申請が可能で社内体制が整っていたため	20
2	世界同時開発が会社方針として示されているため	18
2	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	18
2	症例登録速度が海外と遜色なかったため	18
5	当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため、あるいは国際共同治験に参加可能な治験責任医師、医療機関が整っていたため	14
5	国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため	14
7	市場性、事業性の理由により日本も優先する開発戦略が取られたため（国内の	13

	対象患者数が十分に多い／開発スピードと上市時期を重視した／薬価を含め、日本のビジネスとしての魅力が高かった)	
8	開発早期に導入し、欧米に遅れずに開発できたため	8

「国際共同治験への参加や同時申請が可能な社内体制が整っていたため」とした回答が最も多く 69.0% (20 品目) であった。この他、「症例登録速度が海外と遜色なかったため」(62.1% (18 品目))、「当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため、あるいは国際共同治験に参加可能な治験責任医師、医療機関が整っていたため」(48.3% (14 品目))、「国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため」(48.3% (14 品目))と、治験実施体制が整備されていたことを示唆する回答が上位に挙がった。

また、「世界同時開発が会社方針として示されているため」(62.1% (18 品目))のほか、「市場性、事業性の理由により日本も優先する開発戦略が取られたため」(59.1% (13 品目))が上位に入っており、事業上の利点から日本も優先する開発戦略を取る会社が一定割合あることが分かった。

疾患領域別の承認品目数を見ると、前回調査では、抗悪性腫瘍薬及び神経系用薬で欧米先行となった品目の割合が 57.1% (8/14) 及び 72.7% (8/11) と高かったのに対し、今回調査では欧米先行は 20.0% (2/10) 及び 14.3% (1/7) と少なく、同時申請が 60.0% (6/10) 及び 71.4% (5/7) と高かった。抗悪性腫瘍薬及び神経系用薬で同時申請となった要因で上位に挙がったものを表 9 及び表 10 に示す。

表 9 抗悪性腫瘍薬で同時申請となった要因 (上位 5 項目)

順位	同時申請となった要因	「重要」の回答数
1	国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため	5
2	症例登録速度が海外と遜色なかったため	4
3	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	4
4	世界同時開発が会社方針として示されているため	3
5	開発早期に導入し、欧米に遅れずに開発できたため	3

表 10 神経系用薬で同時申請となった要因 (上位 5 項目)

順位	同時申請となった要因	「重要」の回答数
1	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	4
2	世界同時開発が会社方針として示されているため	4
3	国際共同治験への参加や同時申請が可能な社内体制が整っていたため	4
4	市場性、事業性の理由により日本も優先する開発戦略が取られたため (国内の対象患者数が十分に多い／開発スピードと上市時期を重視した／薬価を含め、日本のビジネスとしての魅力が高かった)	3
5	開発早期に導入し、欧米に遅れずに開発できたため	2

3.1.3 申請ラグ

3.1.3.1 計算対象

申請ラグのタイプ別品目数を表 11 に示した。申請ラグを正確に計算するためには、日本と欧州又は米国のいずれかで承認申請されている品目を計算対象とする必要があるが、欧米未申

請、欧米未開発品目は、アンケート実施時点において欧州、米国でともに承認申請がされていないため、申請ラグを計算することができない。したがって、本報告書においては、解析対象の 56 品目のうち、欧米と日本の両方において申請された 48 品目から、さらに欧米での申請年月が不明であった 2 品目を除いた計 46 品目を計算対象品目とした。

表 11 申請ラグ（欧米未申請・未開発を除外した場合）の計算対象（太枠部分）

申請ラグのタイプ		品目数 (欧米での申請時期が分かるもの)	合計 (欧米での申請時期が分かるもの)
1	欧米先行	19 (17)	48 (46)
2	日本先行	0 (0)	
3	同時申請	29 (29)	
4	欧米未申請	2	8
5	欧米未開発	6	
合計		56	

3.1.3.2 承認年度ごとの申請ラグ

平成 22 年度以降の調査結果も含め承認年度ごとの申請ラグの中央値の推移を表 12 に示した。さらに、平成 22 年度から令和 5 年度の申請ラグの品目順位グラフを図 3 に示した。

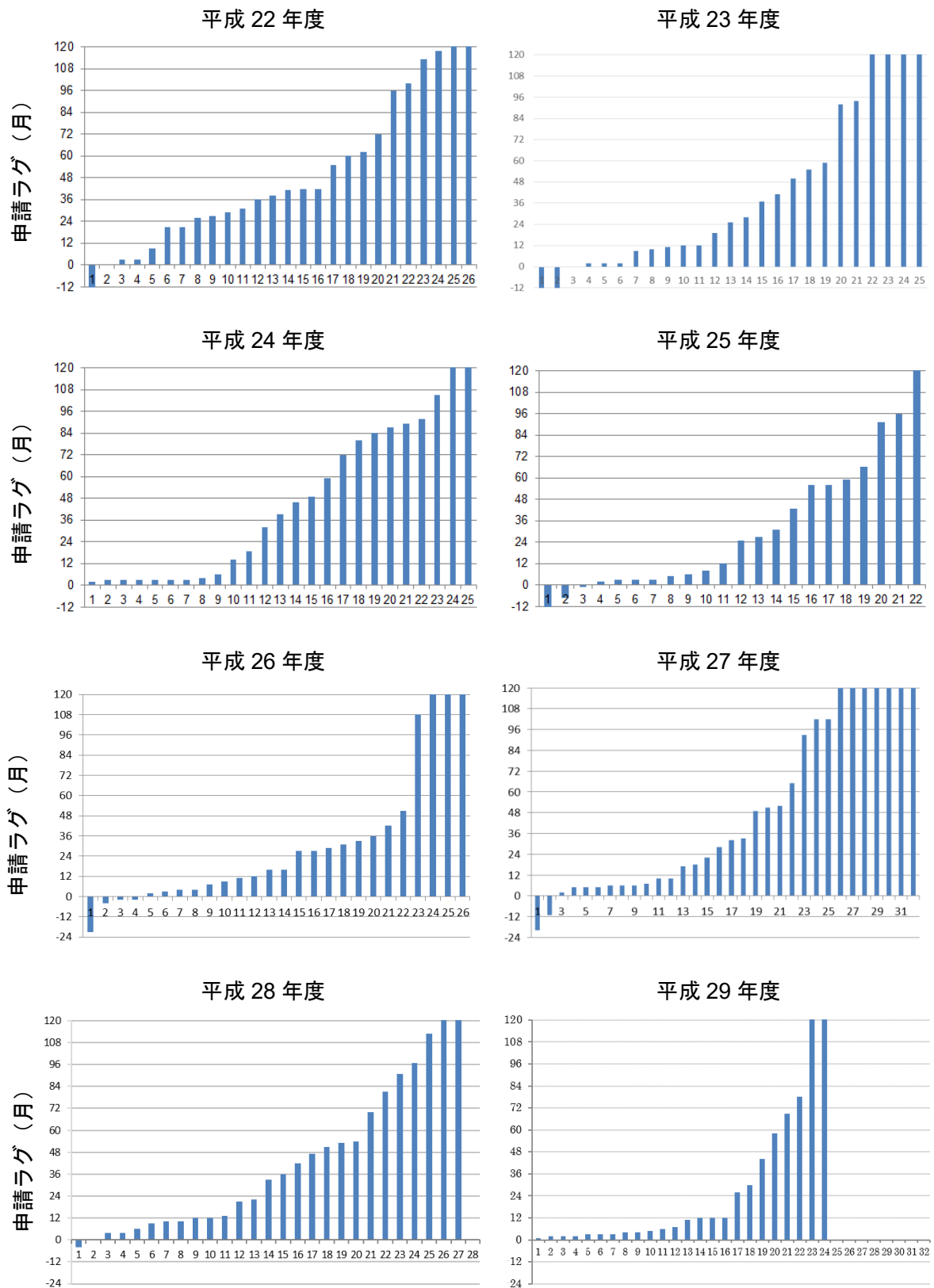
令和 4 年度及び令和 5 年度承認品目の申請ラグ中央値はそれぞれ 2.0 ヶ月、6.0 ヶ月であり、近年の調査と比較し、申請ラグの短縮が継続していることがうかがえた。

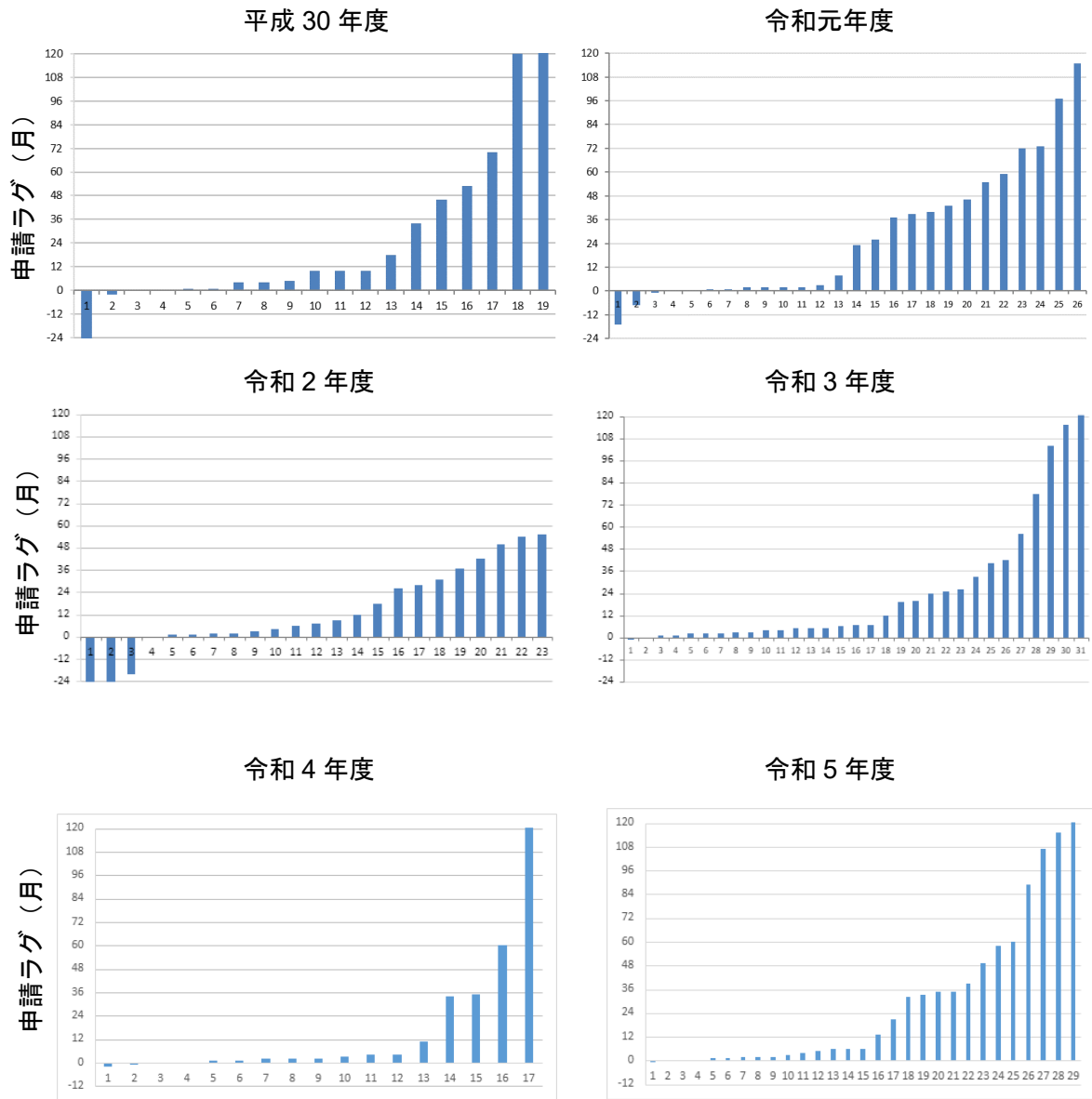
表 12 承認年度ごとの申請ラグ（欧米未申請・未開発を除外した場合）の中央値の推移

年度	申請ラグ中央値（月）													
	H22	H23	H24	H25	H26	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
全品目	37.0 (22)	19.0 (21)	16.5 (20)	8.0 (19)	11.5 (22)	17.0 (25)	21.0 (23)	7.0 (23)	10.0 (19)	15.5 (26)	7.0 (23)	7.0 (31)	2.0 (17)	6.0 (29)

() は品目数

図 3 平成 22 年度から令和元年度までに承認された新有効成分含有医薬品の申請ラグの順位グラフ（欧米未申請・未開発を除外した場合）





注：平成 22 年度から平成 29 年度までの順位グラフは検討会議品目を含む

3.1.3.3 層別解析した場合の申請ラグ

(a) 導入の影響

今回の調査対象である令和 4～5 年度承認品目（欧米未申請・未開発を除外）について、導入品の資本別（内資・外資）品目数を表 13 に、資本別（内資・外資）が導入品目の申請ラグに与える影響を表 14 に示した。

欧米未申請・未開発品目を除外した場合の計算対象全品目（46 品目）における申請ラグの中央値は 4.5 ヶ月であった。申請ラグ（中央値）を資本別にみると、内資 26.5 ヶ月（16 品目）、外資 3.5 ヶ月（30 品目）であり、内資の方が長かった。また、資本別の差異の要因分析として導入品目の影響を検討した結果、導入品目の割合は内資 56.3%（9 品目）、外資 26.7%（8 品目）であり、内資の方が高かった。導入品目の申請ラグは、32.0 ヶ月（17 品目）であり、内資及び外資の導入品の申請ラグは、それぞれ 21.0 ヶ月（9 品目）、42.0 ヶ月（8 品目）で、外資の方が長かった。導入品目のうち、申請ラグが 12 ヶ月以上のものは内資では 9 品目中 5 品目（55.6%）、

外資では 8 品目中 5 品目 (62.5%) であり、いずれも半数を超えていた。さらにそれらのうち申請ラグが 100 ヶ月を超える品目は内資及び外資共に 1 品目であった。

一方、自社創出品においては、申請ラグが 12 ヶ月以上のものは内資では 7 品目中 4 品目 (57.1%)、外資では 22 品目中 4 品目 (18.2%) であった。さらに申請ラグが 100 ヶ月を超える品目が内資では 2 品目あったが、外資ではゼロであった。導入品目を除外した場合の申請ラグは、全品目および外資では僅かに減少した一方で、内資では増加した。また、導入時期別の品目割合を図 4 に示した。導入品の導入時期が開発後期 (第Ⅲ相試験開始前あるいは進行中、又は第Ⅲ相試験終了後 (承認取得後も含め)) であった割合が内資では 78%、外資では 63% であり、導入時期はいずれも遅い傾向が見られた。

以上の結果より、全体では導入品目の申請ラグが長くなる傾向が見られた。背景として、導入品の導入時期の遅れが影響している可能性がある。外資では、導入品の申請ラグが自社導出品に比較して非常に長く、導入品の申請ラグへの影響が大きいと考えられた一方、内資では、品目数が限られていたことに加え、自社創出品目でも 100 ヶ月を超える品目が 2 品目あったことが全体の申請ラグ中央値に大きく影響し、導入品の影響は限定であったと考えられた。

さらに、今回のアンケートより、導入品目の導入元が新興企業か新興企業以外かを調査項目に加えた。新興企業の定義は、「国内における承認年の末時点で創立 30 年以内、かつ承認取得前年の売り上げ 5 億ドル未満の企業」を参考として、各企業の判断とした。導入品目のうち、新興企業からの導入割合が 47.1% (8 品目)、新興企業以外からの導入割合が 52.9% (9 品目) であり、大きな違いは見られなかった (表 15)。一方でその導入時期は、新興企業からの導入品の場合、第Ⅲ相試験終了後 (承認取得後を含む) である割合が 37.5% であり、新興企業以外からの導入品の場合の 11.1% と比較して高かった。また、導入元のタイプが申請ラグに与える影響を表 16 に示した。新興企業からの導入品では申請ラグ中央値は 42 ヶ月、新興企業以外からの導入品では 6 ヶ月であった。品目数が限られるものの、新興企業からの導入品では導入時期が遅く、申請ラグが長い傾向が見られた。

表 13 導入品目数 (資本別、欧米未申請・未開発を除く)

	品目数(割合)		
	全体	内資	外資
調査対象全品目	46	16	30
導入品目	17 (37.0%)	9 (56.3%)	8 (26.7%)

表 14 導入品目が申請ラグに与える影響 (資本別、令和 4 年度-令和 5 年度合計)

	全体		内資		外資	
	中央値 (月)	品目数	中央値 (月)	品目数	中央値 (月)	品目数
調査対象全品目	4.5	46	26.5	16	3.5	30
自社創出品目	3.0	29	39.0	7	2.0	22
導入品目	32.0	17	21.0	9	42.0	8

図 4 内資・外資企業別の品目導入時期

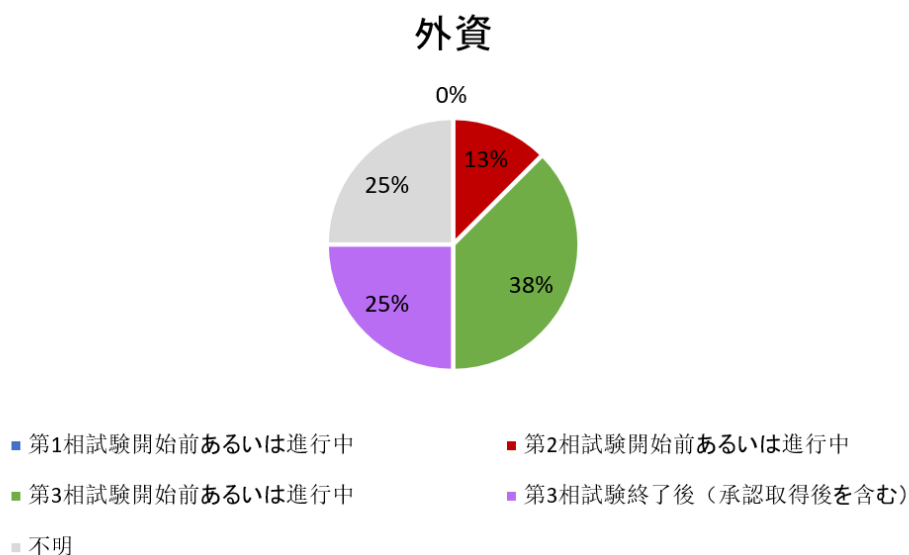
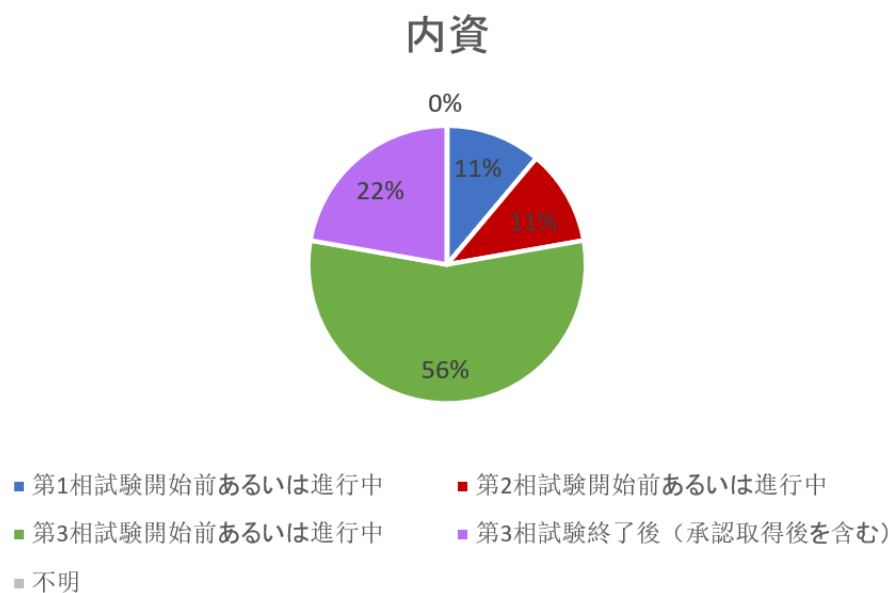


表 15 導入品目の導入元および導入時期

	品目数		第Ⅲ相試験終了後 (承認取得後を含む)	第Ⅲ相試験開始前 あるいは進行中
	数	割合	割合	割合
1) 新興企業	8	47.1%	37.5%	37.5%
2) 新興企業以外	9	52.9%	11.1%	66.7%
3) その他				

表 16 導入元が申請ラグに与える影響

	品目数	ラグ中央値（月）	ラグ平均値（月）
1) 新興企業	8	42	44.8
2) 新興企業以外	9	6	26.8
3) その他			

(b) 欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への参加が申請ラグに与える影響

今回の調査結果を含めた平成 26～令和 5 年度の過去 10 年間に承認された新有効成分含有医薬品について、「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への日本の参加」の有無により層別化したときの申請ラグ（中央値）を表 17 に示した。

申請ラグ（中央値）は、いずれの年度においても「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本が参加」の方が「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本が不参加」よりも小さく、日本が参加したときの申請ラグ（中央値）は 12 ヶ月以下、参加していないときの申請ラグ（中央値）は 29 ヶ月以上であった。日本が参加した場合の申請ラグ（中央値）の経年推移をみると、平成 28 年度以外は 2～6 ヶ月と短かったが、平成 28 年度のみ 12 ヶ月でその他の年度より長かった。これは、日本が参加した平成 28 年度の承認品目 5 品目のうち、2 品目の申請ラグが 12 ヶ月以上であったことに起因すると考えられる。

平成 29 年度には調査を開始して以降初めて欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本が参加した品目数が不参加の品目数を上回り、以降も同様であった。いずれの年度においても、日本が参加の場合は、不参加の場合に比べて同時申請品目の割合が高くなっており、この点からも、欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への参加が申請ラグの短縮に有効であることが示唆され、今後さらに国際共同開発が増えることで申請ラグがより解消されていくことが期待される。

表 17 「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への日本の参加」が申請ラグに与える影響

	申請ラグ中央値（月）及び申請タイプ別の品目数									
	H26	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本が参加										
申請ラグ中央値	5.5	6.0	12.0	4.0	4.0	2.0	4.0	4.0	2.0	3.0
品目数	10	9	5	15	12	15	11	19	13	17
欧米先行	2 (20%)	1 (11%)	2 (40%)	3 (20%)	1 (8%)	5 (33%)	2 (18%)	6 (32%)	2 (15%)	4 (24%)
日本先行	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)
同時申請	8 (80%)	8 (89%)	3 (60%)	12 (80%)	11 (92%)	10 (67%)	9 (82%)	13 (68%)	11 (85%)	13 (77%)
欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本は不参加										
申請ラグ中央値	30.0	52.0	39.0	58.0	53.0	40.0	29.5	39.5	31.5	46.5
品目数	16	23	22	9	7	11	12	12	4	12
欧米先行	12 (75%)	19 (83%)	16 (73%)	6 (67%)	6 (86%)	8 (73%)	8 (67%)	8 (67%)	2 (50%)	9 (75%)
日本先行	1 (6%)	1 (4%)	0 (0%)	0 (0%)	1 (14%)	1 (9%)	3 (25%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)
同時申請	3 (19%)	3 (13%)	6 (27%)	3 (33%)	0 (0%)	2 (18%)	1 (8%)	4 (33%)	2 (50%)	3 (25%)

さらに、令和 4～5 年度承認品目における新有効成分含有医薬品の同時申請品目に関して、資本別の国際共同治験への参加の割合を表 18 に示した。全品目における第Ⅲ相国際共同治験に参加した割合は 62.5% (30/48) である一方、同時申請した品目における第Ⅲ相国際共同治験に参加した割合は 82.8% (24/29) と高かった。資本別の内訳は、内資 62.5% (5/8)、外資 90.5% (19/21) であった。

表 18 同時申請品目における第Ⅲ相国際共同治験への参加の割合（資本別）

	全体	内資	外資
	品目数 (割合)	品目数 (割合)	品目数 (割合)
調査対象全品目	29	8	21
国際共同治験に参加	24 (82.8%)	5 (62.5%)	19 (90.5%)
国際共同治験に不参加	5 (17.2%)	3 (37.5%)	2 (9.5%)

(c) 日本のオーファン指定取得の影響

今回の調査対象（令和 4～5 年度承認品目）に対し、日本におけるオーファン指定取得の有無による層別解析を行い、申請ラグ（欧米未申請・未開発を除外した場合）を前回調査対象（令和 2 年～令和 3 年度承認品目）と比較した（表 19）。

表 19 日本でのオーファン指定の有無が申請ラグに与える影響

	2023 年調査 (令和 2 年～3 年度承認品目)		2025 年調査 (令和 4 年～5 年度承認品目)	
	あり	なし	あり	なし
オーファン指定の有無	あり	なし	あり	なし
対象品目	16	38	15	31
申請ラグ中央値 (月)	9.5	6.0	35.0	2.0
申請ラグ平均値 (月)	17.6	18.9	45.0	17.1

今回調査では前回調査と異なり、オーファン指定品目の申請ラグは、非オーファン指定品目よりも長いという結果が得られた。今回調査において、「オーファン指定の時期が遅くなったことにより、承認申請の時期に影響を与えた等のデメリット」は指定された全ての品目で「ない」との回答が得られたことから、オーファン指定時期が申請ラグに及ぼした影響は小さいと考えられる。

オーファン指定品目および非オーファン指定品目で第Ⅲ相国際共同治験に参加した割合はそれぞれ 56.3% (9/16) および 65.6% (21/32) であり、オーファン指定品目の方がやや低かった。その背景として、オーファン指定品目では、非オーファン指定品目に比較して導入品目の割合が高く (43.8% vs 31.3%)、さらに導入時期が第Ⅲ相試験終了後であった割合が高かった (57.1% vs 16.7%) ことが第Ⅲ相国際共同治験の参加割合に影響した可能性がある。

また、第Ⅲ相国際共同治験に参加した品目であっても、欧米先行となった割合がオーファン指定品目では非オーファン指定品目に比較して高かった (44.4% vs 9.5%)。オーファン指定品目においては、第Ⅲ相国際共同治験に参加した場合でも特殊な開発戦略をとった可能性が示唆される。

2024 年に実施されたオーファン指定通知改定も踏まえ、日本でのオーファン指定が申請ラグに与える影響を詳細に分析するため、今後さらなる調査が必要である。

(d) 開発・承認申請促進制度適用の影響

今回の調査対象（計 56 品目）における、米国、欧州、日本各国の開発・承認申請促進制度の利用品目数を表 20 に示した。

表 20 開発・承認申請促進制度の利用品目数

米国における早期承認制度		欧州における早期承認制度		日本における早期承認制度	
制度名	品目数	制度名	品目数	制度名	品目数
Breakthrough Therapy 指定	15 (24.6%)	PRIME スキーム 指定	2 (3.5%)	先駆的医薬品 指定制度	0 (0%)
Accelerated Approval	3 (4.9%)	Conditional marketing authorization	4 (7.0%)	条件付き（早期）承認制度	1 (1.8%)
Fast Track	6 (9.8%)	-	-	-	-
Emergency Use Authorization	2 (3.3%)	-	-	-	-
分からない	4 (6.6%)	分からない	8 (14.0%)	分からない	0 (0%)
利用なし	31 (50.8%)	利用なし	43 (75.4%)	利用なし	55 (98.2%)

米国 Breakthrough（以下、BT）に指定された品目数は 15 品目、EU で PRIME スキーム指定は 2 品目であった。また、米国 Accelerated Approval（以下、AA）により承認取得した品目数は 3 品目、EU で Conditional marketing authorization（CMA）は 4 品目であった。なお、米国 Fast Track 指定された品目数は 6 品目であった。

米国 BT または EU PRIME スキームを活用した品目が認められたものの、本邦の先駆的医薬品指定制度を活用した品目数はゼロであり、前回調査時（2 品目）と同様十分に活用されていないことがうかがえた。

さらに、調査対象期間中、本邦の医薬品条件付き（早期）承認制度を活用した調査対象品目は 1 品目のみであり、米国 AA 及び EU CMA の活用品目数より少なかった。制度上の差異があるため単純比較はできないが、新薬の早期実用化を促進する医薬品条件付き（早期）承認制度も十分に活用されていない可能性がある。一方で、2024 年に実施された「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正も踏まえ、日本での条件付き承認が申請ラグに与える影響を詳細に分析するため、今後さらなる調査が必要である。

3.1.4 中国の申請ラグ

3.1.4.1 計算対象

計算対象品目 46 品目のうち、中国の欧米からの申請ラグを計算可能な 17 品目について、申請ラグを計算し、併せて当該 17 品目の日本の欧米からの申請ラグも計算し、前回調査結果と比較した。

3.1.4.2 中国の申請ラグ及び日本との比較

本調査の対象品目 17 品目の背景情報は下表のとおりであり、欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験

への参加状況は、日本及び中国で、それぞれ 76.5%及び 41.2%であり、日本において参加割合が高かった。

表 21 計算対象の背景情報（17 品目）

	全体	内資	外資
	品目数（割合）	品目数（割合）	品目数（割合）
調査対象全品目	17	6	11
国際共同治験への日本の参加	13（76.5%）	4	9
国際共同治験への中国の参加	7（41.2%）	3	4
国際共同治験へ日本・中国ともに参加	7（41.2%）	3	4
アジア第Ⅲ相治験 （又はピボタル試験）への日本の参加	0（0%）	0	0
アジア第Ⅲ相治験 （又はピボタル試験）への中国の参加	2（11.8%）	0	2

本調査の対象品目 17 品目における中国の欧米からの申請ラグの中央値は 11 ヶ月、平均値は 22.9 ヶ月であり、前回調査と比較すると中央値、平均値ともに短縮していた（表 22）。また、中国の申請ラグの計算対象とした品目の日本の欧米からの申請ラグの中央値は 2 ヶ月、平均値は 19.9 ヶ月であった。中国の申請ラグと日本の申請ラグを比較すると、中央値では、日本の申請ラグがより小さい結果であったが、平均値においては大きな差は認められなかった（表 22）。

表 22 中国と日本の申請ラグの比較

	令和 2-3 年		令和 4-5 年			
	品目数	申請ラグ中央値（月）	申請ラグ平均値（月）	品目数	申請ラグ中央値（月）	申請ラグ平均値（月）
中国	20	14.5	28.8	17	11	22.9
日本		10.5	27.6		2	19.9

3.2 調査Ⅱ

3.2.1 申請ラグのタイプ

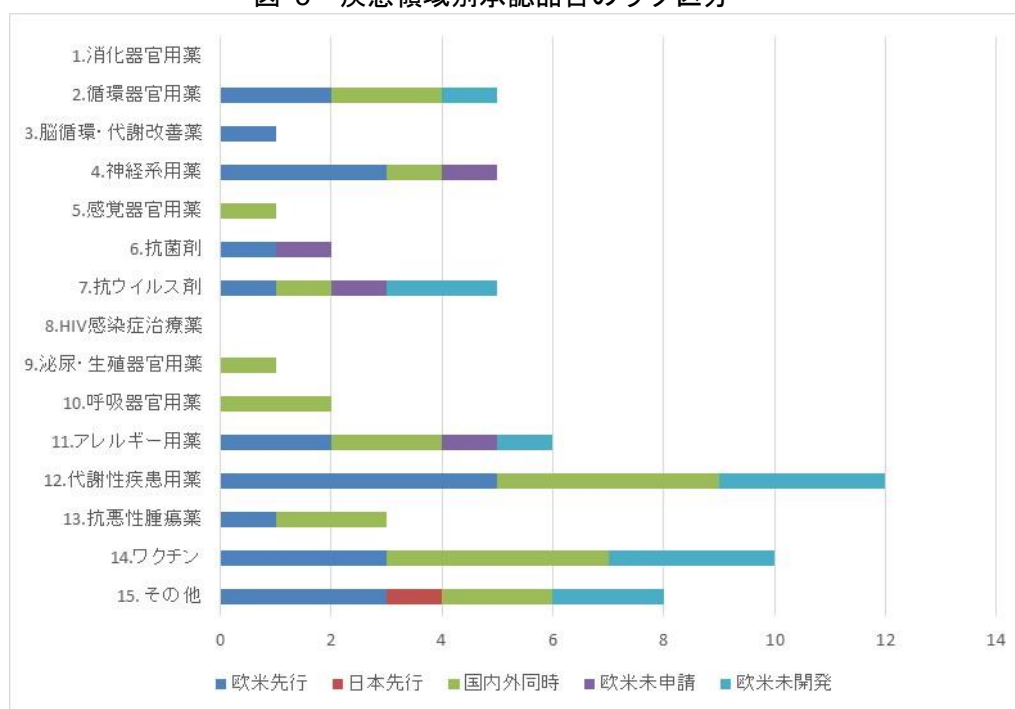
小児適応関連の申請ラグタイプを日本と欧米との申請時期の関係により分類した結果、解析対象品目のうち「欧米先行」が 39.3% (24 品目) と最も多く、次いで「同時申請」が 31.1% (19 品目)、「欧米未申請」が 6.6% (4 品目)、「欧米未開発」が 21.3% (13 品目)、「日本先行」は 1.6% (1 品目) であった (表 23)。令和 4-5 年度品目では全体の申請品目数は例年と比較して顕著に増加し、欧米先行が 39.3% と依然高い割合を維持し、同時申請はこれまでとほぼ同程度である。欧米未申請・未開発品目はラグ値を算出できないため、以後の解析対象から除外したが、これらの品目は実質的には日本先行開発・申請品目とみなせる。この点を考慮すると、同時申請品目と日本先行 (欧米未開発・未申請を含む) 品目は全体の半数を超えていた。令和 4-5 年度承認品目のラグ中央値は 13 ヶ月で、平均値は 30 ヶ月であった。なお、同時申請の品目のうち申請ラグが 6 ヶ月以内であった品目は第 7 回調査 (令和 2 及び令和 3 年度) で 83.3%、第 8 回調査 (令和 4 年度及び令和 5 年度) で 84.2% であり、同時申請品目のうち多くが 6 ヶ月以内の申請であった。

表 23 申請ラグのタイプ

申請ラグのタイプ	H30-R1 年度	R2-3 年度	R4-5 年度
欧米先行 (欧州又は米国の承認申請が日本より 1 年以上早い)	8 (34.8%)	14 (40.0%)	24(39.3%)
日本先行 (日本の承認申請が欧州又は米国より 1 年以上早い)	6 (26.1%)	1 (2.9%)	1(1.6%)
同時申請 (日本、欧州、米国の承認申請日の差が 1 年以内)	9 (39.1%)	12 (34.3%)	19(31.1%)
欧米未申請 (海外ではまだ承認申請されていない)	0	6 (17.1%)	4(6.6%)
欧米未開発 (海外では開発されていない)	0	2 (5.7%)	13(21.3%)
合計	23	35	61

疾患領域別承認品目のラグ区分は図 5 に示した。疾患領域別に申請ラグタイプを分析すると、代謝性疾患用薬、ワクチンの品目数が多く、同時申請と欧米先行がほぼ同数で構成されていた。いずれの疾患領域においても特定の申請ラグタイプに偏る傾向はみられなかった。一方、欧米未開発の品目が一定程度占める疾患領域としては、抗ウイルス剤、代謝性疾患用薬、ワクチンなどが挙げられる。また、その他に分類される対象疾患としては血液系疾患などがあつた。

図 5 疾患領域別承認品目のラグ区分



3.2.2 申請タイプ別の要因

欧米先行、同時開発及び日本先行の申請タイプについて、要因例を設問で提示し、要因ごとに重要度 (0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要) について回答を得た。要因ごとに「重要」及び「やや重要」の回答数を集計した。

3.2.2.1 欧米先行となった主な要因

欧米先行の 24 品目について、欧米先行となった要因として「重要」又は「やや重要」と回答された上位項目を表 24 に示した。なお、「重要」と回答された項目を優先し、回答数順に順位付けを行った。主な要因として、「重要」の回答に着目すると、「国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」とした回答が最も多かった (13 品目)。その他の要因として、「欧米の薬事相談制度や開発促進策等の環境が重視されたこと」(4 品目)、「日本の開発組織体制が不十分であったこと」(2 品目)、「治験実施環境の理由 (専門医不足、患者数が少ない等)」(2 品目)、「日本国内で小児用剤の開発が別途求められたこと」(1 品目) が挙げられた。

表 24 欧米先行となった主な要因

順位	欧米先行となった要因	「重要」の回答数	「やや重要」の回答数
1	国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため	13	0
2	欧米の薬事相談制度や開発促進策等の環境が重視され、欧米先行の開発戦略が取られたため	4	3

3	日本の開発組織体制が不十分、要員や開発資金の不足により、国内開発に時間を要したため	2	2
	次の治験実施環境の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため： 国内に小児対象疾患に対する専門医、治験責任医師がいない、あるいは適切な医療機関がない／日本では小児臨床試験に関する同意取得が難しい／国内の小児薬物動態試験、プラセボ対照試験の実施が困難／日本の患者数が少ない	2	1
4	日本国内で小児用製剤の開発が別途求められたため、日本の小児開発を遅らせた	1	2

3.2.2.2 日本先行（欧米未申請を含む）となった主な要因

申請ラグタイプが日本先行の1品目と欧米未申請の4品目のうち、回答が得られた日本先行の1品目、欧米未申請の3品目、計4品目を対象とし、それぞれの要因として「重要」または「やや重要」と回答された上位項目を表25に示した。なお、「重要」と回答された項目を優先し、回答数順に順位付けを行った。

主な要因として、「重要」の回答に着目すると、成人の臨床試験と合わせて小児開発することが可能であったためが最も多く（3品目）、次いで国内創出品であり、開発着手が欧米よりも早かったため（2品目）が挙げられた。その他、海外の規制要件が日本よりも厳しかったこと、小児開発は同時開発が会社方針であったこと、日本と欧米の臨床評価方法に違いがなかったことも要因として示された。

これらの結果から、日本先行（欧米未申請を含む）の要因として、成人と合わせた効率的な小児開発の可能性や同時開発を重視する企業方針、国内開発品であることが影響していると考えられる。

表 25 日本先行となった主な要因

順位	日本先行となった要因	「重要」の回答数	「やや重要」の回答数
1	成人の臨床試験と合わせて小児開発することが可能であったため	3	0
2	国内創出品であり、開発着手が欧米よりも早かったため	2	0
3	海外の規制要件が日本よりも厳しかったため	1	1
4	小児開発についても、同時開発が会社方針であるため	1	1
5	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	1	0

3.2.2.3 同時申請が可能となった主な要因

同時申請を行った 19 品目のうち、回答が得られた 18 品目について、同時申請が可能となった要因として「重要」又は「やや重要」と回答された上位 5 項目を表 26 に示した。なお、「重要」と回答された項目を優先し、回答数順に順位付けを行った。

主な要因として、「重要」の回答に着目すると、日本と欧米の臨床評価方法に違いがなかったことと、小児開発も同時開発が会社方針であることが最も多く（8 品目）、次いで成人の臨床試験と合わせて小児開発することが可能であったこと（7 品目）、日本の医薬品市場の規模が評価されたこと（5 品目）、当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたこと（4 品目）が挙げられた。

これらの結果から、同時申請が進んでいる要因として、評価方法の国際的な共通点や、成人と小児の同時開発が会社方針であり、それが可能であることが重要な要素であることが示唆される。

表 26 同時申請となった主な要因

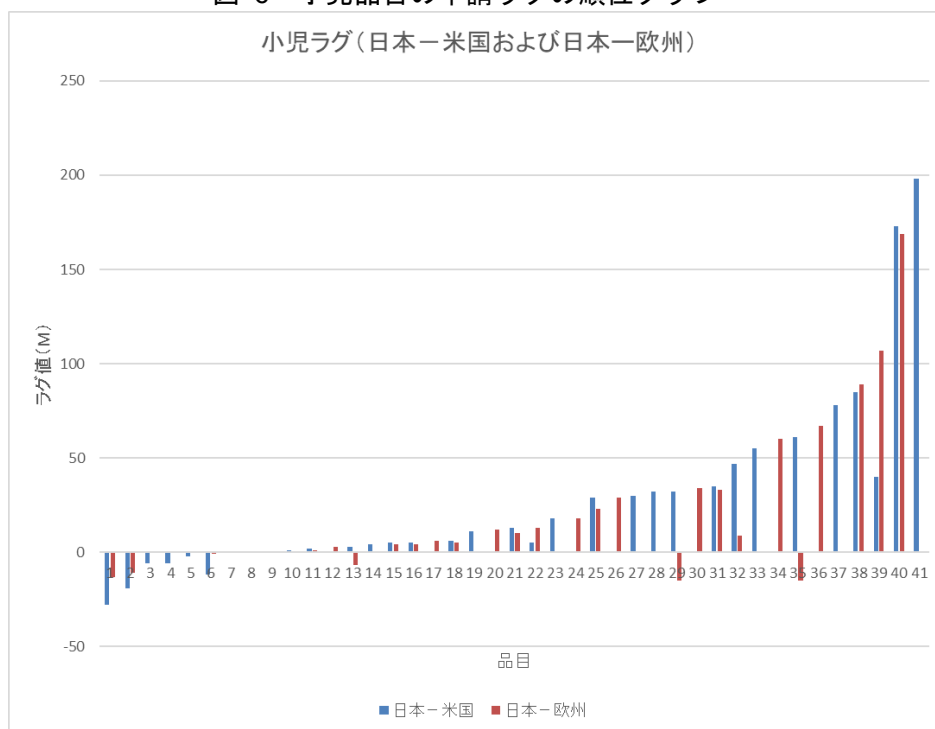
順位	同時申請となった要因	「重要」の回答数	「やや重要」の回答数
1	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	8	10
2	小児開発についても、同時開発が会社方針であるため	8	6
3	成人の臨床試験と合わせて小児開発することが可能であったため	7	0
4	日本の医薬品市場の規模が評価されたため	5	8
5	当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため	4	10

3.2.3 申請ラグの順位グラフ

令和 4-5 年度に、日本において小児適応に関連する承認を取得した新医薬品のうち、日本と米国間の申請ラグまたは日本と欧州間の申請ラグを計算可能な品目数は 41 品目であり、日本と欧米間の小児適応の申請ラグ（日本と米国、日本と欧州の申請ラグそれぞれ）を図 6 に示した。

41 品目のうち、36 品目は日本の他に米国での小児適応の承認を、31 品目は日本の他に欧州での小児適応の承認を取得していた。3 極いずれにおいても小児適応の承認を取得していたのは 27 品目であった。

図 6 小児品目の申請ラグの順位グラフ



日本と欧米間の小児適応の申請ラグの上位 3 品目は以下の通りである。(図 6, No.39~41)。

No.39 は、外資系企業（米国）の欧州からの導入品（第Ⅲ相試験終了後に導入）であった。欧米先行となった要因に関する質問に対しては回答が得られなかったが、国内開発時（導入時）には既に海外第Ⅲ相試験が完了しており、さらに日本人を対象とした第Ⅰ相試験を実施したことがラグの一因と推察される。

No.40 は、外資系企業（欧州）の自社創出品であった。欧米先行となった要因に関する質問に対して、選択肢「国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」、「日本の開発組織体制が不十分、要員や開発資金の不足により、国内開発に時間を要したため」及び「日本国内で小児用製剤の開発が別途求められたため、日本の小児開発を遅らせた」が要因として回答されていた。

No.41 は日本と欧米間の小児適応の申請ラグが最も大きかった品目であり、内資系企業の欧州からの導入品であった。欧米先行となった要因に関する質問に対して、選択肢「国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」及び「海外で承認を有する企業を買収したため」が要因として回答されていた。買収先企業により日本での開発が実施されておらず、買収後に国内第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施したことがラグの要因と考えられる。国内開発時に既に海外で治験が開始されており、さらに日本において小児用製剤の開発が別途求められたことがラグの主要因と考えられる。

これらの 3 品目に共通する点として、全ての品目において「国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」が欧米先行の要因として考えられた。また、3 品目すべての創出国が海外であり、国内開発開始時点で既に海外での開発が相当程度進行していたことが大きな申請ラグの主要因と考えられる。さらに、日本特有の要因

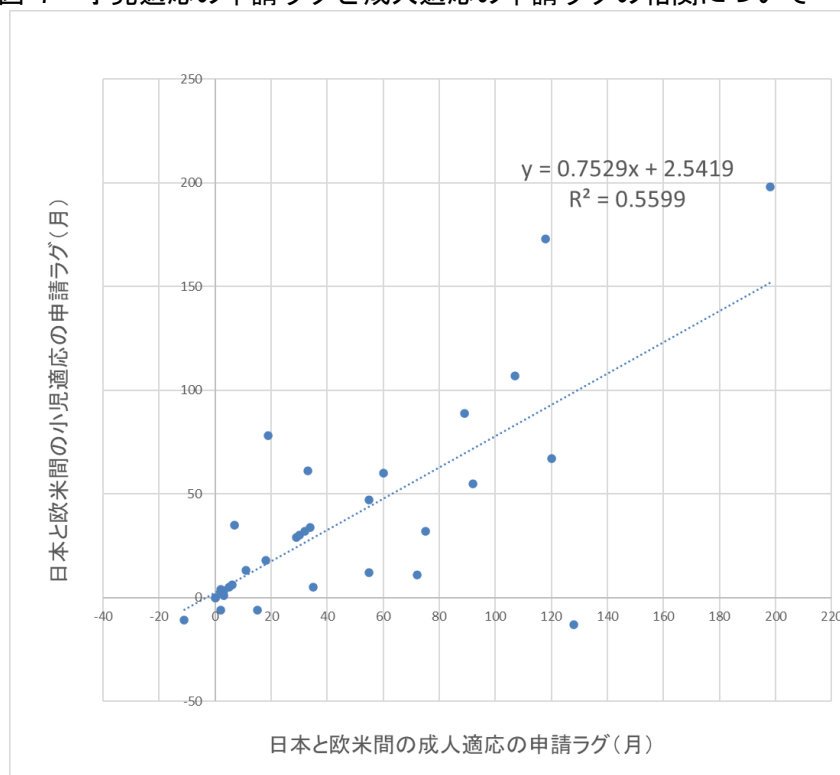
として、日本人を対象とした臨床試験の実施 (No.39) や日本国内で小児用製剤の開発が別途求められたこと (No.40) も、申請ラグを拡大させる要因として挙げられた。

3.2.7. 小児適応の申請ラグと成人適応の申請ラグについて

小児適応と成人適応がある 33 品目について、各品目の小児適応の申請ラグと成人適応の申請ラグの相関関係を図 7 に示した。散布図から、日本と欧米間の小児適応の申請ラグと成人適応の申請ラグには正の相関が認められる (回帰式: $y = 0.7529x + 2.5419$, $R^2 = 0.5599$)。成人適応のラグが大きい品目ほど、小児適応のラグも大きくなる傾向があり、成人適応の開発・申請戦略が小児適応に影響していることが示唆される。

一方、外れ値として成人適応のラグから予測される値より小児適応のラグが大きい品目が 2 品目存在する。これらは、海外で既に承認されており、かつ日本の開発組織体制が不十分で国内開発に時間を要したケース (申請タイプ: 欧米先行) や、海外の規制要件が日本と比べて厳しく、一方で国内では成人と小児の同時開発が可能なケース (申請タイプ: 同時申請) であった。総じて、成人適応の開発戦略と小児適応のラグには強い関連があり、成人と小児の同時開発を可能とする制度や治験環境の整備が、ラグ解消に向けた重要な要素である。

図 7 小児適応の申請ラグと成人適応の申請ラグの相関について



3.2.7. 層別解析した場合の申請ラグ

令和 4-5 年度における解析対象品目について、欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への日本の参加の有無で申請ラグを比較した結果、参加品目の申請ラグ中央値は 3.5 か月、不参加品目では 35 か月と顕著な差が認められた (表 27)。参加品目は 22 品目であり、そのうち同時申請が 16 品目、欧米先行が 6 品目、日本先行はゼロであった。一方、不参加品目は 19 品目であり、

欧米先行が 15 品目、同時申請が 3 品目、日本先行が 1 品目であった。この結果から、国際共同治験への参加は小児適応においても申請ラグ短縮に極めて有効であることが示唆される。

表 27 「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への日本の参加」が申請ラグに与える影響

申請ラグ中央値（月）及び申請タイプ別の品目数（令和 4-5 年度）	
欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本が参加	
申請ラグ中央値	3.5
品目数	22
欧米先行	6
日本先行	0
同時申請	16
欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験に日本は不参加	
申請ラグ中央値	35
品目数	19
欧米先行	15
日本先行	1
同時申請	3

第Ⅲ相国際共同治験への参加率を資本別に比較した結果、全体では 36.1%（22/61 品目）**が参加していた。内資企業では参加率が 11.1%（3/27 品目）にとどまったのに対し、外資企業では 55.9%（19/34 品目）と高かった（表 28）。

この差は、外資企業がグローバル開発体制を有し、国際共同治験への参画が標準戦略となっていることに起因すると考えられる。

表 28 第Ⅲ相国際共同治験への参加の割合（資本別）

調査対象全品目	全体	内資	外資
	品目数（割合）	品目数（割合）	品目数（割合）
調査対象全品目	61	27	34
国際共同治験に参加	22 (36.1%)	3 (11.1%)	19 (55.9%)
国際共同治験に不参加	39 (63.9%)	24 (88.9%)	15 (44.1%)

4. まとめ

4.1 調査 I

製薬協 薬事委員会では、申請ラグの実態とその要因把握のため、調査 I において令和 4～5 年度に承認された新有効成分含有医薬品を対象として、申請ラグに関するアンケート調査を実施した。

申請ラグの算出においては、解析対象 56 品目から申請ラグを計算することができない欧米未申請・未開発の 8 品目及び欧米での申請年月が不明であった 2 品目の計 10 品目を除外した 46 品目を計算対象とした。令和 4 年度及び令和 5 年度承認品目の申請ラグの中央値は、それぞれ 2.0、6.0 ヶ月（表 12）であり、近年の調査と比較し、申請ラグの短縮の継続がうかがえた。申請ラグのタイプ別の状況では、計算対象品目中、同時申請が 29 品目（51.8%）、欧米先行が 19 品目（33.9%）、日本先行品目は認められなかった。これまでのアンケート結果を含めた経年推移（図 1: 平成 19 年度からデータあり）をみると、日本先行品目数が少ないことには変わりはないが、同時申請品目数の着実な増加傾向は近年も安定しており、同時申請が欧米先行を上回る主要な選択肢となりつつある。同時申請となった要因の上位には、「国際共同治験への参加や同時申請が可能な社内体制が整っていたため」、「世界同時開発が会社方針として示されているため」、「症例登録速度が海外と遜色なかったため」が挙げられ、社内戦略や治験実施体制の整備が同時申請品目の増加に寄与していることがうかがわれる。欧米先行となった要因としては、「国内治験開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため」、「市場性、事業性の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため」が多く、開発着手時点での海外状況や事業戦略が影響していることが示された。日本先行は今回認められなかったが、欧米未申請品目では、国内制度の活用や国内創出品であることが要因として挙げられた。疾患領域別の承認品目数を見ると、前回調査において抗悪性腫瘍薬で欧米先行となった品目の割合が 57.1%（8/14）と高かったのに対し、今回調査では欧米先行は 20%（2/10）と少なかった。欧米先行の 2 品目はいずれも導入品目であったが、導入品目の割合は前回調査の 78.6%（11/14）に比べ、今回調査では 50%（5/10）とやや少なかった。また、導入品目においても、同時申請の要因として「開発早期に導入し、欧米に遅れずに開発できたため」を重要と回答した品目が一定数あり、導入品目の減少や導入時期の早期化が欧米先行品目の減少に影響している可能性がある。

また今回、承認品目数が多い疾患領域（6 品目以上）では同時申請の割合が高いのに対し、承認品目数が少ない疾患領域（5 品目以下）では欧米先行の割合が高かった品目数が少なく明確な考察は困難であるものの、承認品目数が少ない疾患領域における導入品の割合（54.5%）は、承認品目数が多い疾患領域における導入品の割合（36.1%）に比べて導入品の割合が高いこと、また承認品目数が少ない疾患領域では自社創出品であっても、欧米先行品目の割合（60%）は承認品目数が多い疾患領域（8.7%）に比べて高い状況が寄与していると考えられる。令和 4～5 年度の承認品目の申請ラグ（中央値）を資本別にみると、内資の方が外資よりも長かった（26.5 ヶ月 vs 3.5 ヶ月）。また、導入品目の申請ラグへの影響を検討した結果、全体では導入品目の申請ラ

グが長くなる傾向が見られた。背景として、導入品の導入時期の遅れが影響している可能性がある。資本別の考察においては、外資では、導入品の申請ラグが自社導出品に比較して非常に長く（42.0 ヶ月 vs 2.0 ヶ月）、導入品の申請ラグへの影響が大きいと考えられた一方、内資では、品目数が限られていたことに加え、自社創出品目でも 100 ヶ月を超える品目があったことが全体の申請ラグ中央値に大きく影響し、導入品の影響は限定であったと考えられた。さらに、今回のアンケートより、導入品目の導入元（新興企業または新興企業以外）が申請ラグに与える影響について検討した。導入品目の導入割合は、新興企業と新興企業以外で大きな違いは見られなかった一方、その導入時期は、新興企業からの導入品の場合、第Ⅲ相試験終了後（承認取得後を含む）である割合が新興企業以外からの導入品の場合と比較して高く（37.5% vs 11.1%）、申請ラグ（中央値）も長かった（42 ヶ月 vs 6 ヶ月）。以上より、導入品目数が限られるため考察に限界はあるものの、新興企業からの導入品では導入時期が遅く、申請ラグが長い傾向が見られたと考えられる。

第Ⅲ相国際共同治験への参加については、いずれの年度においても、日本が参加の場合は、不参加の場合に比べて同時申請品目の割合が高く、申請ラグが短縮する傾向が見られた。このことから、もはや第Ⅲ相国際共同治験へ参加と同時に申請は標準の開発戦略となったと言える。

オーファン指定有無が申請ラグに与える影響を検討した結果、オーファン指定品目では非オーファン指定品目よりも申請ラグが長かった。オーファン指定品目では導入品の割合が高く、その導入時期が遅い傾向が見られたことから、第Ⅲ相国際共同治験の参加割合に影響し、結果として申請ラグが延長した可能性がある。「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改訂について」（医薬薬審発 0116 第 1 号、令和 6 年 1 月 16 日）及び「優先審査等の取扱いについて」の一部改正について」（医薬薬審発 0116 第 2 号、令和 6 年 1 月 16 日）の通知改定も踏まえ、オーファン指定取得有無が申請ラグに及ぼす影響について今後も調査する。

一方、開発・承認申請促進制度適用の有無の影響について検討したが、今回調査において本邦での先駆的医薬品指定制度を活用した品目はゼロであり、条件付き（早期）承認制度を活用した品目は 1 品目のみであった。これらの制度を活用した品目が限られていたことから検討には限界があった。2024 年に実施された「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正も踏まえ、今後、両制度を利用した品目数が増加することを期待するとともに、申請ラグ短縮に及ぼす効果の検討を継続したい。

中国の欧米からの申請ラグを計算し日本と比較したところ、計算対象となった 17 品目において申請ラグに大きな差は認められなかった。なお、申請ラグに影響を与える因子である欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への参加状況に関して日本及び中国で集計したところ、それぞれ 76.5%及び 41.2%であり、日本において参加割合が高かったが、中国でも国際共同治験への参加も進んでいる状況が確認できた。中国の申請時期の情報が得られた品目が限られているため考察に限界があるが、日本及び中国の両方で承認申請を行う企業においては、国際共同治験の参加国として日本・中国をともに含め、同時期に承認申請する方針をとり始めている可能性がある。年々各社に

おける中国の開発の優先度が高まっていると考えられることから、今後も中国の状況についても情報を収集していきたい。

総合機構の公表情報によると審査側では令和4年度、5年度及び6年度の承認品目における審査ラグの中央値はいずれも0ヵ月であったが、ドラッグ・ラグはそれぞれ0.4年、1.3年及び2.0年であり、未だに存在している。一方で、製薬協加盟会社を対象とした今回の調査では同時申請が欧米先行を上回る主要な選択肢となりつつあることが分かった。また、同時申請品目のほとんどで日本と欧米の申請時期の差が6ヵ月以内であり、同時申請の戦略を取る場合、日本と欧米はほぼ同時期に申請を行っていることが示唆された。一方で、未だに欧米先行の品目が4割近くあり、申請ラグの解消に向けて取り組む必要があると考える。本調査の導入品目に関する検討から、新興企業からの導入品目はそれ以外からの導入品目と比べて、導入時期が遅く、申請ラグの中央値も大きくなる傾向が認められた。新興企業を含め海外を拠点とする企業におけるシーズについて、日本で遅れることなく開発を進めるためには、日本の薬事規制や市場の魅力を海外に発信していくことが重要と考えることから、総合機構の海外事務所における今後の活動に注目したい。また、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」での議論の結果を踏まえて、「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」（医薬薬審発1225第2号、令和5年12月25日）、「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」（医薬薬審発0116第1号、医薬機審発0116第1号、令和6年1月16日）、「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正について」（医薬薬審発1023第2号、令和6年10月23日）及び「希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方について」（医薬薬審発1023第3号、令和6年10月23日）が発出された。これらを含め、近年の規制改革が申請ラグに与える影響を含め、今後も継続して申請ラグ及びその要因に関する調査の結果及びその考察を発信し、ドラッグ・ラグの解消に貢献していきたい。

4.2 調査II

令和4～5年度の第8回調査（2022年4月から2024年3月まで）に小児適応に関連する承認を取得した新医薬品についてドラッグ・ラグ調査を実施した結果、全体の申請品目数は61品目であり、第7回調査（令和2～3年度）の35品目及び第6回調査（平成30～令和元年度23品目）と比較して顕著に増加した。申請ラグのタイプ別では、「欧米先行」が最も多く39.3%（24品目）を占め、依然として主流である。一方、欧米未申請品目・未開発品目を実質的な日本先行品としてみなす場合、同時申請と日本先行品（欧米未申請・未開発含め）の合計は全体の60.7%（37品目）を占めており、欧米先行より上回っている。今回調査の小児ラグ中央値は13ヵ月であった。疾患領域別の申請ラグの区分は前回の調査と比較する場合、傾向が異なる疾患領域が見られるが、各年度の申請品目によるばらつきもあるため、明確に領域ごとの申請ラグ区分の変化について結論付けることはできないと考える。

前回調査では、欧米先行となった要因として最も多かったのは「国内開発開始時または国内導

入時に既に海外で治験が開始されていた、または承認されていたため」であり、その他に「日本で小児用製剤の開発が別途求められたこと」「欧米の薬事相談制度や開発促進策の活用」「日本と海外の治験環境の差異」が挙げられた。今回調査でも同様に「国内開発開始時または国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、または承認されていたため」がトップ要因として挙げられ、加えて「欧米の薬事相談制度や開発促進策が重視されたこと」「国内の治験体制や要員不足」「日本で小児用製剤の追加要求」が要因として挙げられた。比較すると、基本構造は変わらないが、今年は治験体制やリソース不足といった国内側の制約がより明確に示されている点の特徴である。

欧米先行に対して、日本先行となった要因としては、前回調査は「成人との同時開発が可能であったこと」「国内創出品であること」が主要要因であり、今年も同様の傾向が確認された。また、今回は「評価方法の国際的な共通性」や「小児加算制度の魅力」も要因として挙げられ、薬事制度面、薬価制度面の影響がより強調されている。

最後に、同時申請が可能となった要因としては、「対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかった」や「小児開発でも同時開発が会社方針」を重要視するとした回答が多く、同時申請を目指した会社の社内戦略及び臨床評価体制・方法が日本と欧米で相違ないことの重要性がうかがえる（表 26）。これは前回の調査と同じ傾向が続いている。また、「国内の専門医・医療機関の存在」「小児対象患者数の確保」の重要性がわかり、治験実施体制の整備が重要な要素として浮き彫りになった。また、成人の同申請タイプの要因と比較すると、成人の調査結果において、「世界同時開発が会社方針として示されたため」、「日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため」が「同時申請」が可能であった要因の上位に挙がっており、これらの要因は成人・小児に係わらず同時開発・申請するには重要であると考えられる。

申請品目ラグの順位グラフ（図 6）から、同時申請の品目以外、多くの品目の申請ラグは 2-3 年以内であるが、上位 3 品目の申請ラグが 100 ヶ月を超えて長いことが示された。数年単位でドラッグ・ラグが発生している品目は一定数存在したが、上位 3 品目はいずれも日本での着手タイミング時点ですでに海外で臨床試験が進められており、開発着手の遅れは申請ラグにつながった。また、今回の調査対象品目について、小児ラグと成人ラグの間で強い相関が認められていたが、今後この傾向について引き続き調査・分析を行っていきたい。

本調査結果から、申請ラグの解消には、企業の日本における早期開発への意欲を促進させ得る治験及び開発環境、市場環境作りが重要であることが示唆された。今回の調査から、日本の小児加算制度に魅力を感じたため日本で小児申請（開発）を先行させた品目が認められた。

今回の調査において、「欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験への日本の参加」が申請ラグに与える影響を検討した結果、国際共同治験へ参加した品目のラグ中央値は不参加の場合と比較して顕著に短縮され（表 27）、国際共同治験への参加は小児の開発においても申請ラグを短縮させる重要な要素であると考えられた。この点は成人の調査結果と一貫している。会社を内資・外資に分けて国際共同治験への参加割合を検討した結果から（表 28）、今回のデータから外資の開発品目は内資の開発品目より割合が高かった。

小児用医薬品については、令和元年の薬機法の一部改正により、特定用途医薬品の指定について法制化されたことで、小児を対象とした医薬品開発におけるインセンティブ（優先相談・審査適用等）が明確化された。さらに、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」における小児用医薬品の開発促進の議論を踏まえ、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」（医薬薬審発 0112 第 3 号、令和 6 年 1 月 12 日）が発出され、令和 6 年 3 月 29 日に一部改正された。本通知により、成人を対象とした医薬品の開発期間中に、任意で小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDA の確認を受けられる仕組みが導入された。また、令和 6 年 7 月には PMDA に小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターが設置され、小児用医薬品開発計画確認相談の受付が開始された。

さらに、令和 7 年 1 月の「薬機法等制度改正に関するとりまとめ」において、より一層小児用医薬品の開発を促進しドラッグ・ロスの解消につなげる必要があるという観点から、成人用の新有効成分又は新効能等の医薬品の承認申請者に対して、小児用医薬品開発の計画策定を努力義務として課すとともに、再審査期間の上限を 12 年に引き上げるとの方針が示された。加えて、薬価制度面においても、小児加算の加算率の柔軟な判断、新薬創出等加算の品目要件への小児用医薬品の追加などが行われており、薬事制度と薬価制度の両面から小児用医薬品の開発促進に向けた環境整備が進められている。

本調査結果から、申請ラグの解消には、企業の日本における早期開発への意欲を促進させ得る治験及び開発環境、市場環境作りが重要であることが示唆された。上記の一連の制度整備を受け、今後、小児を対象とした医薬品開発の加速（国際共同治験への参加等）に繋がっていくのか、日本先行、同時申請の品目数及びそれを可能とした要因の変化について継続して調査していきたい。

5. 謝辞

日本製薬工業協会 薬事委員会、医薬品評価委員会をはじめ、アンケート調査ならびに本報告書の作成にご協力いただいた多くの皆様に深く感謝いたします。

【検討メンバー】

日本製薬工業協会 薬事委員会

柏谷祐司 武田薬品工業株式会社

日本製薬工業協会 薬事委員会 申請薬事部会

高山裕典 エーザイ株式会社

日本製薬工業協会 薬事委員会 申請薬事部会 第1グループ

杉原正 大塚製薬株式会社
呉サン 住友ファーマ株式会社
石原惟志 バイエル薬品株式会社
山木晋 アステラス製薬株式会社
橋本美紀 杏林製薬株式会社
太田雪 グラクソ・スミスクライン株式会社
徳弘雅子 サノフィ株式会社
阿部享生 サノフィ株式会社
千田俊彦 参天製薬株式会社
和家祥大 JCR ファーマ株式会社
中野恭嗣 塩野義製薬株式会社
吉原由佳莉 帝國製薬株式会社
福澤萌香 日本化薬株式会社
土肥篤 日本新薬株式会社
堀口智子 ノボ ノルディスクファーマ株式会社
一原さやか ファイザーR&D 合同会社

日本製薬工業協会 薬事委員会事務局

塚田純子
梅田真紀子

(別添 1)

調査 I (新有効成分含有医薬品)

令和 4 年 (2022 年) 4 月から令和 6 年 (2024 年) 3 月に承認された新有効成分含有医薬品について品目毎に Forms からご回答ください。特例承認及び緊急承認の品目は調査対象から除外しております。

調査 I の対象となるものが複数ある場合には、回答を提出した後、改めてリンクをクリックして (又は Forms で回答提出後に表示される「別の回答を送信」をクリックして)、それぞれご回答をお願いします。

回答途中での保存はできないため、事前に入力内容を準備いただくことをお勧めします。回答終了後に「回答を保存して編集する」をクリックしていただくと、その後も提出期限内であれば回答の修正が可能です。なお、Office365 を導入されていない場合には回答を保存して編集することができませんので、ご注意ください。

回答者名	
メールアドレス	
企業名	
販売名	
一般名	
疾患領域	1.消化器官用薬 2.循環器官用薬 3.脳循環・代謝改善薬 4.神経系用薬 5.感覚器官用薬 6.抗菌剤 7.抗ウイルス剤 8.HIV 感染症治療薬 9.泌尿・生殖器官用薬 10.呼吸器官用薬 11.アレルギー用薬 12.代謝性疾患用薬 13.抗悪性腫瘍薬 14.ワクチン 15.その他 ()
承認年月日	(□□□□/□□/□□)
欧米を含む国際共同第Ⅲ相治験 (又はピボタル試験) への日本の参加	1. あり 2. なし
アジア第Ⅲ相治験 (又はピボタル試験) *への日本の参加 *: 欧米を含まないアジア地域での治験 アジア地域の定義については こちら をご参照ください。	1. あり 2. なし
欧米を含む国際共同第Ⅲ相治験 (又はピボタル試験) への中国の参加	1. あり 2. なし 3. 分からない
アジア第Ⅲ相治験* (又はピボタル試験) への中国の参加 *: 欧米を含まないアジア地域での治験	1. あり 2. なし 3. 分からない
未承認薬・適応外薬検討会議品目の該当性	1. 該当する 2. 該当しない

1. 申請企業、シーズ、申請時期及び審査等に関する情報

下表の各項目についてご回答ください。

① 申請企業及びシーズに関する情報： 該当する項目番号を選択してください。	
申請企業の本社国籍 地域の定義については こちら ら をご参照ください	1. 日本 2. 米国 3. 欧州 4. その他の外国 5. 国内外企業共同
シーズの創出国	1. 日本 2. 米国 3. 欧州 4. アジア（日本以外） 5. その他
<p>自社・導入品の別</p> <p>※共同開発の場合、一方の会社の創出品であれば 1. 自社創出品をご選択ください</p> <p>※「c) 導入時期」について、導入時に海外及び/又は日本で複数の治験が実施されていた場合、最も進んでいた相の試験に基づいてご回答ください (例：導入時、海外で第Ⅲ相試験実施中、日本で第Ⅰ相試験実施中であった場合は「3) 第Ⅲ相試験開始前あるいは進行中」を選択してください)。</p>	<p>1. 自社創出品 →②申請時期の情報へ進んでください</p> <p>2. 導入品</p> <p>a) 導入元の国籍</p> <p>1) 日本</p> <p>2) 米国</p> <p>3) 欧州</p> <p>4) アジア（日本以外）</p> <p>5) その他</p> <p>6) 分からない</p> <p>b) 導入元のタイプ</p> <p>1) 新興企業*</p> <p>2) 新興企業*以外</p> <p>3) その他</p> <p>*: 新興企業の基準として、「国内における承認年の末時点で創立 30 年以内、かつ承認取得前年の売り上げ 5 億ドル未満の企業」を参考としてご判断ください。</p> <p>c) 導入時期</p> <p>1) 第Ⅰ相試験開始前あるいは進行中</p> <p>2) 第Ⅱ相試験開始前あるいは進行中</p> <p>3) 第Ⅲ相試験開始前あるいは進行中</p> <p>4) 第Ⅲ相試験終了後（承認取得後を含む）</p> <p>5) 分からない</p>

② 申請及び承認の時期

※ 各国/地域における承認申請年月、承認年月をご記入ください。

※ 該当箇所に「年」を西暦4桁、「月」を2桁、計6桁の数字をご記入ください。

※ 未申請の場合は、承認申請（NDA）及び承認取得にそれぞれ000000（6桁）をご記入下さい。

※ 承認審査中の場合は、承認申請（NDA）に申請年月を入力の上、承認取得に000000(6桁)をご記入下さい。

※ 不明の場合は999999（6桁）をご記入ください。「月」だけが不明の場合は「年」を4桁で記入し、下2桁に99をご記入ください。

項目 \ 地域	日本	米国	欧州	中国
承認申請（NDA）	□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□
承認取得	□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□

③審査形態等に関する情報：該当する番号を選択してください。

	米国	欧州	中国	日本
審査区分	1. 通常 2. 優先 3. 未申請・未承認 4. 分からない	1. 通常 2. 迅速 3. 未申請・未承認 4. 分からない	1. 通常 2. 優先 3. 未申請・未承認 4. 分からない	1. 通常 2. 優先 3. 迅速
早期承認制度 (複数選択可)	0. なし 1. Breakthrough Therapy 指定 2. Accelerated Approval 3. Fast track 4. Emergency Use Authorization 5. 分からない	0. なし 1. PRIME スキーム 指定 2. Conditional marketing authorization 3. 分からない	0. なし 1. Breakthrough 2. Conditional approval 3. Special review and approval 4. 分からない	0. なし 1. 先駆的医薬品指定制度 2. 条件付き承認制度
オーファン指定	0. なし 1. あり 2. 開発していない 3. 分からない	0. なし 1. あり 2. 開発していない 3. 分からない	0. なし 1. あり 2. 開発していない 3. 分からない	0. なし (→2.へお進みください) 1. あり (→④を回答ください)

<p>④日本におけるオーファン指定：該当する項目番号を選択してください。</p> <p>※ 指定時期については該当箇所「年」を西暦4桁、「月」を2桁、計6桁の数字をご記入ください。</p> <p>※ 不明の場合は999999（6桁）をご記入ください。「月」だけが不明の場合は「年」を4桁で記入し、下2桁に99をご記入ください。</p>	
オーファン指定時期（指定された年月）	□□□□□□
オーファン指定の時期が遅くなったことにより、承認申請の時期に影響を与えた等のデメリットがありましたか？	1. あり 2. なし

2. 該当品目の日米欧での承認申請の状況について、以下からご選択ください。

本調査は、特に日本での承認申請が欧米から著しく遅れる理由に関する分析を目的にしていることから、便宜的に、日本での申請が欧米いずれかの承認申請より**1年以上遅れたもの**を“1.欧米先行”、**1年以上早いもの**を“2.日本先行”、**日本と欧米との申請の差が1年未満のもの**を“3.同時申請”としました。なお、欧州と米国両方で承認申請をした場合、早い方の承認申請日と日本の承認申請日と比較してください。

- 欧州又は米国の承認申請が日本の承認申請より1年以上早いもの“1.欧米先行”。
→ 質問2-1を回答ください。
- 本調査時点で欧米のいずれかで申請されており、日本の承認申請が当該欧州又は米国の承認申請より1年以上早いもの“2.日本先行”。
→ 質問2-2を回答ください。
- 日本の承認申請と、欧州又は米国の承認申請（両方の場合は、早い方）との差が1年未満のもの“3.同時申請”。
→ 質問2-3を回答ください。
- 欧州、米国、又はその両方で開発されているが、本調査時点ではまだ承認申請されていないもの“4.欧米未申請”。
→ 質問2-2を回答ください。
- 欧米では開発していないもの（他の地域で開発している場合等）“5.欧米未開発”。
→ 質問2-4を回答ください。

2 - 1. 欧州又は米国の承認申請が日本の承認申請より 1 年以上早いケース “1.欧米先行”

該当品目の申請が欧米先行となった要因について、該当する項目の重要度の大きさ（その要因の影響）を3段階（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）から選択してください。その他に考慮した要因がある場合は、「その他」について、重要度1又は2を選択の上、次の質問で「その他」の要因を具体的にご記載ください。その他に考慮した要因が無い場合には、重要度0を選択してください。

*重要度(0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要)

No	要 因	重要度*
1	国内治験開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため	0, 1, 2
2	PMDA と治験相談の結果、日本人での第 I 相試験や日本人での用量設定試験等の追加の試験を求められ、国際共同治験への参加を断念したため	0, 1, 2
3	日本と欧米の薬事規制や医療環境の相違から共通の試験計画書が成立せず、国際共同治験への参加が受け入れられなかったため	0, 1, 2
4	日本において、優先審査や条件付承認制度等の薬事制度が有効活用できなかったため	0, 1, 2
5	日本の開発組織体制が不十分、要員や開発資金の不足により、国内開発に時間を要したため	0, 1, 2
6	市場性、事業性の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため： ・国内の対象患者数が少なく、欧米の患者数が多い ・開発スピードと上市時期を重視した ・日本における薬価面の懸念があり、ビジネスとしての魅力が低かった	0, 1, 2
7	日本で確立していない対象疾患の臨床評価方法（評価指標等）が欧米では確立されていたため	0, 1, 2
8	次の治験実施環境の理由のため： ・国内に対象疾患に対する専門医、治験責任医師がいない、あるいは適切な医療機関がない ・放射性同位元素を用いる試験や女性の第 I 相試験は国内で実施困難であり、治験の実施体制は整えられていない ・日本の症例登録スピードに懸念がある	0, 1, 2
9	同時開発により一部の治験（第 I 相、第 II 相等）が重複し、高コストとなること、あるいは日本の治験費用の高さから同時開発の戦略がとられなかったため	0, 1, 2
10	欧米において、開発・承認促進の薬事制度を利用できたため	0, 1, 2

その他（具体的に記載してください）

No	要 因	重要度*
11		0, 1, 2

2 - 2. 日本の承認申請が欧州又は米国の承認申請より 1 年以上早いケース（海外は開発段階のものも含む） “2.日本先行” “4.欧米未申請”

該当品目の申請が日本先行（欧米未申請も含む）となった要因について、該当する項目の重要度の大きさ（その要因の影響）を3段階（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）から選択してください。その他に考慮した要因がある場合は、「その他」について、重要度1又は2を選択の上、次の質問で「その他」の要因を具体的にご記載ください。その他に考慮した要因が無い場合には、重要度0を選択してください。

*重要度（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）

No	要 因	重要度*
1	国内の対象患者が多い、又は症例登録スピードが海外よりも早かったため	0, 1, 2
2	日本の医薬品市場の規模が評価されたため	0, 1, 2
3	国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため	0, 1, 2
4	当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため	0, 1, 2
5	対象疾患の臨床評価体制（評価指標等）が海外より進んでいたため	0, 1, 2
6	海外の規制要件（QT 評価、CV リスク評価のための大規模/長期臨床試験成績等）が日本よりも厳しかったため	0, 1, 2
7	日本において開発・承認促進の薬事制度（先駆的医薬品指定制度等）を利用できたため	0, 1, 2
8	国内創出品であり、開発着手が欧米よりも早かったため	0, 1, 2
9	国内創出品で、海外ではライセンス戦略がとられたが、交渉に時間を要し欧米での開発着手が遅くなったため	0, 1, 2
10	開発早期に導入し国内開発を先行させた後、欧米での開発が開始されたため	0, 1, 2

その他（具体的に記載してください）

No	要 因	重要度*
11		0, 1, 2

2-3. 日本、欧州、米国の承認申請の差が1年未満のケース “3.同時申請”

該当品目の申請が同時申請となった要因について、該当する項目の重要度の大きさ（その要因の影響）を3段階（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）から選択してください。その他に考慮した要因がある場合は、「その他」について、重要度1又は2を選択の上、次の質問で「その他」の要因を具体的にご記載ください。その他に考慮した要因が無い場合には、重要度0を選択してください。

*重要度（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）

No	要 因	重要度*
1	国内に臨床開発組織があり、治験実施が容易であったため	0, 1, 2
2	症例登録速度が海外と遜色なかったため	0, 1, 2
3	当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため、あるいは国際共同治験に参加可能な治験責任医師、医療機関が整っていたため	0, 1, 2
4	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	0, 1, 2
5	世界同時開発が会社方針として示されているため	0, 1, 2
6	国際共同治験への参加や同時申請が可能な社内体制が整っていたため	0, 1, 2
7	日本において開発・承認促進の薬事制度（先駆的医薬品指定制度等）を利用できたため	0, 1, 2
8	市場性、事業性の理由により日本も優先する開発戦略が取られたため： ・国内の対象患者数が十分に多い ・開発スピードと上市時期を重視した ・薬価を含め、日本のビジネスとしての魅力が高かった	0, 1, 2
9	国内における追加の臨床試験が不要で海外臨床試験成績のみで申請したため	0, 1, 2
10	当局と合意した追加の国内臨床試験の規模が小さかった（日本人第I相と早期第II相だけなど）ため	0, 1, 2
11	開発早期に導入し、欧米に遅れずに開発できたため	0, 1, 2
12	POC 評価を含む早期開発が日本で実施されたため	0, 1, 2
13	世界同時開発が可能なライセンサーとの契約が成立したため	0, 1, 2

その他（具体的に記載してください）

No	要 因	重要度*
14		0, 1, 2

2-4. 欧米では開発*していないケース

地域の定義は以下外務省のホームページを別途ブラウザでご参照ください。

<https://www.mofa.go.jp/mofaj/area/index.html>

*2-4 における「開発」の定義は、薬事承認申請及び治験の実施を意味する。

0. 日本以外で開発していない。

1. 日本の他、欧米以外の以下の地域で開発している。

- (ア) アジア
- (イ) 大洋州
- (ウ) 中南米
- (エ) 中東
- (オ) アフリカ
- (カ) カナダ
- (キ) 分からない

調査Ⅱ

(小児適応に関連する承認を取得した新医薬品)

令和4年(2022年)4月から令和6年(2024年)3月までに小児適応に関連する承認を取得した新医薬品について品目毎に Forms からご回答ください。本調査に、以下の申請区分の品目が含まれております。公知申請、特例承認及び緊急承認の品目は調査対象から除外しております。

- (1) 新有効成分含有医薬品
- (2) 新医療用配合剤
- (3) 新投与経路医薬品
- (4) 新効能医薬品
- (5) 新剤形医薬品
- (6) 新用量医薬品

調査Ⅱの対象となるものが複数ある場合には、回答を提出した後、改めてリンクをクリックして(又は Forms で回答提出後に表示される「別の回答を送信」をクリックして)、それぞれご回答をお願いします。

回答途中での保存はできないため、事前に入力内容を準備いただくことをお勧めします。回答終了後に「回答を保存して編集する」をクリックしていただくと、その後も提出期限内であれば回答の修正が可能です。なお、Office365を導入されていない場合には回答を保存して編集することができませんので、ご注意ください。

企業名	
販売名	
一般名	
疾患領域	1. 消化器官用薬 2. 循環器官用薬 3. 脳循環・代謝改善薬 4. 神経系用薬 5. 感覚器官用薬 6. 抗菌剤 7. 抗ウイルス剤 8. HIV 感染症治療薬 9. 泌尿・生殖器官用薬 10. 呼吸器官用薬 11. アレルギー用薬 12. 代謝性疾患用薬 13. 抗悪性腫瘍薬 14. ワクチン 15. その他 ()
承認年月日	(□□□□/□□/□□)
未承認薬・適応外薬検討会議品目の該当性	1. 該当する 2. 該当しない
欧米を含む第Ⅲ相国際共同治験（又はピボタル試験）への日本の参加	1. あり 2. なし
アジア第Ⅲ相治験（又はピボタル試験）*への日本の参加 *: 欧米を含まないアジア地域での治験 アジア地域の定義については こちら をご参照ください。	1. あり 2. なし
本調査への該当性	1. あり 2. なし → 該当医薬品は、小児適応に関連する承認を取得した新医薬品に該当しないと御社が判断する場合は、該当性なしを選択し理由をご記載ください。

1. 申請企業、シーズ、申請時期及び審査等に関する情報

下表の各項目についてご回答ください。

① 申請企業及びシーズに関する： 該当する項目番号を選択してください。	
申請企業の本社国籍 地域の定義については こちら をご参照ください。	1. 日本 2. 米国 3. 欧州 4. その他の外国 5. 国内外企業共同
シーズの創出国	1. 日本 2. 米国 3. 欧州 4. アジア(日本以外) 5. その他の外国
<p>自社・導入品の別</p> <p>※共同開発の場合、一方の会社の創出品であれば 1. 自社創出品をご選択ください</p> <p>※「c) 導入時期」について、導入時に海外及び/又は日本で複数の治験が実施されていた場合、最も進んでいた相の試験に基づいてご回答ください (例：導入時、海外で第Ⅲ相試験実施中、日本で第Ⅰ相試験実施中であった場合は「3) 第Ⅲ相試験開始前あるいは進行中」を選択してください)。</p>	<p>1. 自社創出品 →②小児適応、及び申請、承認の時期へ進んでください</p> <p>2. 導入品</p> <p>a) 導入元の国籍</p> <p>1) 日本 2) 米国 3) 欧州 4) アジア（日本以外） 5) その他 6) 分からない</p> <p>b) 導入元のタイプ</p> <p>1) 新興企業* 2) 新興企業*以外 3) その他</p> <p>*:新興企業の基準として、「国内における承認年の末時点で創立 30 年以内、かつ承認取得前年の売り上げ 5 億ドル未満の企業」を参考としてご判断ください。</p> <p>c) 導入時期</p> <p>1) 第Ⅰ相試験開始前あるいは進行中 2) 第Ⅱ相試験開始前あるいは進行中 3) 第Ⅲ相試験開始前あるいは進行中 4) 第Ⅲ相試験終了後（承認取得後を含む） 5) 不明</p>

②申請及び承認の時期

本品目の小児患者集団を対象とする効能の海外とのドラッグラグのみではなく、成人適応とのラグを把握するために、成人適応の申請・承認時期についても調査致します。

項目	地域	日本	米国	欧州
	※ 各国/地域における承認申請年月、承認年月をご記入ください。 ※ 該当箇所「年」を西暦4桁、「月」を2桁、計6桁の数字をご記入ください。 ※ 未申請の場合（成人効能を有さない場合も含む）は、承認申請（NDA）及び承認取得にそれぞれ000000（6桁）をご記入下さい。 ※ 承認審査中の場合は、承認申請(NDA)に申請年月を入力の上、承認取得に000000(6桁)をご記入下さい。 ※ 不明の場合は999999（6桁）をご記入ください。「月」だけが不明の場合は「年」を4桁で記入し、下2桁に99をご記入ください。			
小児適応の申請		□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□
小児適応の承認		□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□
成人適応の申請		□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□
成人適応の承認		□□□□□□	□□□□□□	□□□□□□

③審査形態等に関する情報：該当する番号を選択してください。

	日本	米国	欧州
審査区分	1. 通常 2. 優先 3. 迅速	1. 通常 2. 優先 3. 未申請・未承認 4. 分からない	1. 通常 2. 迅速 3. 未申請・未承認 4. 分からない
オーファン指定	0. なし 1. あり	0. なし 1. あり 2. 開発していない 3. 分からない	0. なし 1. あり 2. 開発していない 3. 分からない
特定用途医薬品指定	0. なし 1. あり	-	-
早期承認制度 (複数選択可)	0. なし 1. 先駆的医薬品指定制度 2. 条件付き承認制度	0. なし 1. Breakthrough Therapy 指定 2. Accelerated Approval 3. Fast track 4. Emergency Use Authorization 5. 分からない	0. なし 1. PRIME スキーム指定 2. Conditional marketing authorization 3. 分からない

2. 該当品目の日米欧での（小児適応の）承認申請の状況について、以下からご選択ください。

本調査は、特に日本での承認申請が欧米から著しく遅れる理由に関する分析を目的にしていることから、便宜的に、日本での申請が欧米いずれかの承認申請より1年以上遅れたものを“1.欧米先行”、1年以上早いものを“2.日本先行”、日本と欧米との申請の差が1年未満のものを“3.同時申請”としました。なお、欧州と米国両方で承認申請をした場合、早い方の承認申請日と日本の承認申請日と比較してください。

- 欧州又は米国の承認申請が日本の承認申請より1年以上早いもの“1.欧米先行”。
→ 質問 2-1 を回答ください。

- 本調査時点で欧米のいずれかで申請されており、日本の承認申請が当該欧州又は米国の承認申請より1年以上早いもの“2.日本先行”。
→ 質問 2-2 を回答ください。

- 日本の承認申請と、欧州又は米国の承認申請（両方の場合は、早い方）との差が1年未満のもの“3.同時申請”。
→ 質問 2-2 を回答ください。

- 欧州、米国、又はその両方で開発されているが、本調査時点ではまだ承認申請されていないもの“4.欧米未申請”。
→ 質問 2-2 を回答ください。

- 欧米では開発していないもの（他の地域で開発している場合等）“5.欧米未開発”。
→こちらでアンケート終了です。

2-1 欧州又は米国の承認申請が日本の承認申請より1年以上早いケース “1.欧米先行”

該当品目の申請が欧米先行となった要因について、該当する項目の重要度の大きさ（その要因の影響）を3段階（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）から選択してください。その他に考慮した要因がある場合は、「その他」について、重要度1又は2を選択の上、次の質問で「その他」の要因を具体的にご記載ください。その他に考慮した要因が無い場合には、重要度0を選択してください。

*重要度(0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要)

No	要 因	重要度*
1	国内、海外において、小児適応を取るために治験で求められる年齢幅が異なるため、同時開発が難しかった	0, 1, 2
2	日本国内で小児用製剤の開発が別途求められたため、日本の小児開発を遅らせた	0, 1, 2
3	成人再審査期間延長のため、会社戦略的に日本の小児開発時期をずらした	0, 1, 2
4	対象小児疾患の臨床評価方法の違いがあった（欧米では評価指標が確立していたが、日本では確立されていなかったなど）	0, 1, 2
5	次の治験実施環境の理由により欧米先行の開発戦略が取られたため： ・国内に小児対象疾患に対する専門医、治験責任医師がいない、あるいは適切な医療機関がない ・日本では小児臨床試験に関する同意取得が難しい ・国内の小児薬物動態試験、プラセボ対照試験の実施が困難 ・日本の患者数が少ない	0, 1, 2
6	日本の小児開発のインセンティブに魅力を感じなかった	0, 1, 2
7	国内開発開始時又は国内導入時に既に海外で治験が開始されていた、又は承認されていたため	0, 1, 2
8	日本と欧米の薬事規制の相違から共通の試験計画書が成立せず、国際共同治験への参加が受け入れられなかったため	0,1,2
9	日本の開発組織体制が不十分、要員や開発資金の不足により、国内開発に時間を要したため	0, 1, 2
10	欧米の薬事相談制度や開発促進策等の環境が重視され、欧米先行の開発戦略が取られたため	0, 1, 2

その他（具体的に記載してください）

No	要 因	重要度*
11		0, 1, 2

2-2. 「日本の承認申請が欧州及び米国の承認申請より 1 年以上早いケース “2.日本先行”」、
「欧州又は米国の承認申請（両方の場合は、早い方）との差が 1 年未満のケース “3.同時申請”」、又は「欧州、米国、又はその両方で開発されているが、本調査時点ではまだ承認申請されていないケース “4.欧米未申請”」。

該当品目の申請が日本先行、同時申請又は欧米未申請となった要因について、該当する項目の重要度の大きさ（その要因の影響）を 3 段階（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）から選択してください。その他に考慮した要因がある場合は、「その他」について、重要度 1 又は 2 を選択の上、次の質問で「その他」の要因を具体的にご記載ください。その他に考慮した要因が無い場合には、重要度 0 を選択してください。

*重要度（0. 該当しない、1. やや重要、2. 重要）

No	要 因	重要度*
1	国内に小児患者が多く、症例登録スピードが早かったため	0, 1, 2
2	日本の医薬品市場の規模が評価されたため	0, 1, 2
3	当該領域をリードする専門医、医療機関が国内に存在していたため	0, 1, 2
4	海外の規制要件が日本よりも厳しかったため	0, 1, 2
5	小児開発についても、同時開発が会社方針であるため	0, 1, 2
6	日本の小児加算制度に魅力を感じたため	0, 1, 2
7	成人の臨床試験と合わせて小児開発することが可能であったため	0,1,2
8	日本と欧米の対象疾患領域の臨床評価方法に違いがなかったため	0,1,2
9	国内創出品であり、開発着手が欧米よりも早かったため	0,1,2

その他（具体的に記載してください）

No	要 因	重要度*
10		0, 1, 2