

1. 医薬品とはなにか

医薬品とは、病気の診断や治療または予防に使われるもので、内服、外用、注射などそれぞれの目的に合った形で使われます。医薬品は、私たちの健やかな毎日の生活に欠かせない存在です。

医薬品には、「医療用医薬品」と、薬局、薬店、ネットで購入できる「一般用医薬品」、および対面での使用者本人への販売が必要な「要指導医薬品」の3種類があります。

日本製薬工業協会（製薬協）の会員各社が研究開発および製造販売を担うのは、「医療用医薬品」の中の「新薬（先発医薬品）」と呼ばれるもので、長い時間と多くの研究開発投資によって生み出されます。

新薬を開発した製薬企業には、発売後も品質、有効性、安全性について一定の期間（再審査期間）確認することが義務づけられています。この再審査期間の終了および新薬の特許権存続期間の満了により、新薬と同じ有効成分を持つ医薬品の製造販売がほかの製薬企業でも可能になります。これを「ジェネリック医薬品（後発医薬品）」と呼びます。

（1）医薬品の定義と製造販売承認制度

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〔通称：医薬品医療機器等法（薬機法）〕において「医薬品」とは、疾病の診断、治療または予防に使用される物質であり、身体の構造や機能に影響を及ぼすことを目的に使用される物質とされています（第2条）。

医薬品医療機器等法における「物質」としての定義に加えて、医薬品はその適正使用に関する情報が、医師、薬剤師などの医療従事者や患者さんなどに提供される必要があります。つまり、物質に十分な情報が付与されてこそ、本来の「医薬品」と呼ぶことができるのです。

医薬品のほかに医薬品医療機器等法で規制されるものとして、「医薬部外品」「化粧品」「医療機器」「再生医療等製品」があります。これらと医薬品は、いずれも品質、有効性、安全性を確保するため、個別の製品ごとに国の承認（または認証、届出）が必要です。

新薬の開発は、長い時間と多くの研究開発費を必要とします。新薬は、製造販売業許可を有する製薬企業が、品質、有効性、安全性を確認して厚生労働大臣に製造販売承認申請を行い、審査を通過したものだけに製造販売承認が与えられます。さらに、医薬品を製造、販売、授与、貯蔵または陳列するためには、製造所、営業所、販売所（薬局、薬店を含む）ごとの許可が必要とされています。

■医薬品医療機器等法（第2条）における

「医薬品」の定義

1. 日本薬局方に収められている物
2. 人又は動物の疾病の診断、治療又は予防に使用されることが目的とされている物であって、機械器具等（機械器具、歯科材料、医療用品、衛生用品並びにプログラム（電子計算機に対する指令であって、一の結果を得ることができるように組み合わせられたものをいう。以下同じ。）及びこれを記録した記録媒体をいう。以下同じ。）でないもの（医薬部外品及び再生医療等製品を除く）
3. 人又は動物の身体の構造又は機能に影響を及ぼすことが目的とされている物であって、機械器具等でないもの（医薬部外品、化粧品及び再生医療等製品を除く）

(2) 医薬品の分類

医薬品は、「医療用医薬品」と OTC 医薬品（Over The Counter Drug）と呼ばれる「一般用医薬品」および「要指導医薬品」に分けられます（1-1）。

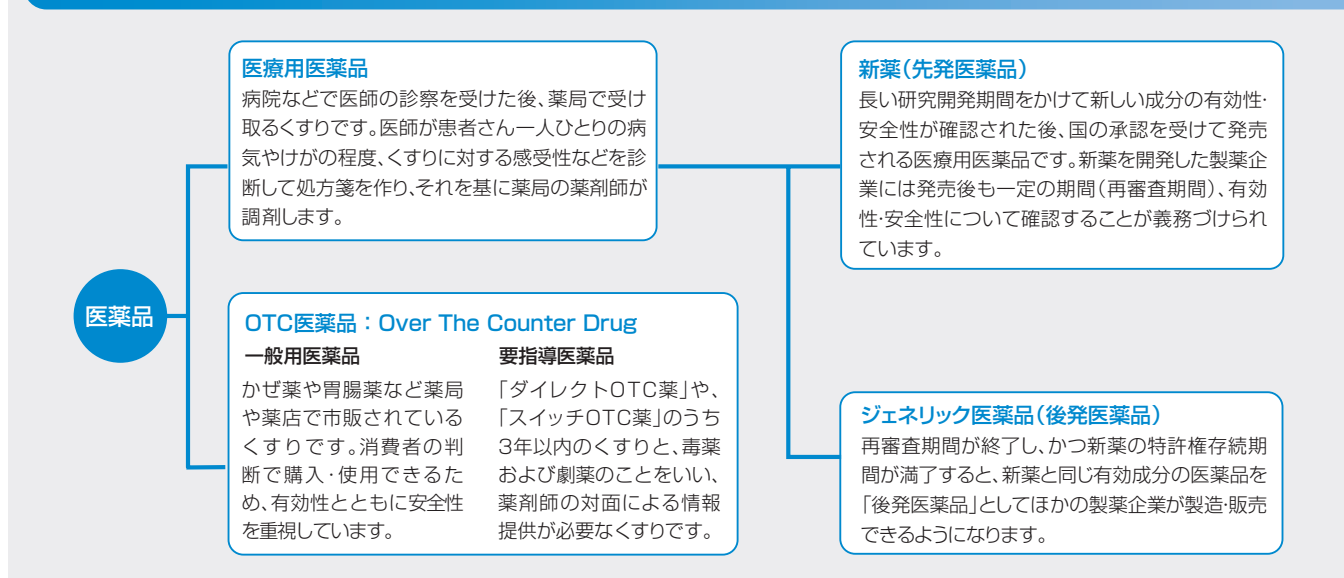
「医療用医薬品」とは、主に医師または歯科医師が診断のうえ、患者さん一人ひとりの病気やけがの程度などを判断して処方し、薬剤師が調剤して使用されるくすりのことです。「新薬（先発医薬品）」と「ジェネリック医薬品（後発医薬品）」に分けられます。

これに対して「一般用医薬品」とは、大衆薬や家庭薬と呼ばれるもので、患者さんが症状に合わせて薬局、薬店で購入し使用する医薬品のことです。「一般用医薬品」は、リスクの程度に応じて第

1 類、第 2 類、第 3 類の 3 つのグループに分類され、販売に際して適切な情報提供を行うことが求められています。第 1 類は薬剤師による書面を用いた情報提供が必要で、第 2 類と第 3 類は薬剤師または登録販売者による販売が可能です。また、「一般用医薬品」はネット販売が認められています。

一方、「要指導医薬品」とは、OTC 医薬品として初めて市場に登場したもので、「医療用医薬品」としての経験がなく、直接 OTC 医薬品になった「ダイレクト OTC 薬」や、「医療用医薬品」から転用されたくすり（「スイッチ OTC 薬」）のうち 3 年以内のくすりと、毒薬および劇薬のことをいい、薬剤師の対面による情報提供や指導が必要な医薬品です。

1-1 医薬品の分類



一般名と製品名

医薬品には一般名と製品名があります。

一般名は医薬品の成分そのものを指す「成分名」であり、製品名は製薬企業が商標登録した「ブランド名」ということになります。製品名が異なっている場合でも、同じ有効成分の医薬品である場合、一般名は同じです。この「一般名」は、世界保健機関（WHO）の国際医薬品一般名専門家協議（INN 専門家協議）で審議のうえ決定され、世界で共通に使えるようにしています。たとえば、血圧降下剤であるアムロジピン（ベシル酸アムロジピン）は一般名ですが、製品名ではノルバスク、アムロジンなどがあります。

現在、厚生労働省は医師が処方を行う際に、後発品が登場している製品の場合、製品名ではなく一般名で処方することを推進しています。なぜなら、処方箋を受け取った薬剤師は新薬だけでなくジェネリック医薬品（後発医薬品）を選択することも可能となり、ジェネリック医薬品のシェアが上がる可能性が期待できるからです。そのために、2012 年度診療報酬改定において、医師が一般名で処方を行った場合には処方箋料の加算を認めることになり、2018 年度診療報酬改定において、加算がより促進されました。

もともと、一般名のことを英語でジェネリックネーム（generic name）というように、ジェネリックとは「後発」という意味ではありません。しかし、後発医薬品は新薬（先発医薬品）と同じ有効成分を使うため、成分名である一般名（ジェネリックネーム）に由来して、後発医薬品のことを「ジェネリック医薬品」と呼ぶようになりました。

(3) 医療用医薬品の品目数

医療用医薬品は、医薬品医療機器等法に基づき、厚生労働大臣による製造販売承認を得た後、製薬企業によって、薬価基準収載の申請が行われます。

医療用医薬品の薬価は、国に定められた公定価格であり、製薬企業が自由に価格を決めることはできません。

「薬価基準」とは、厚生労働省が定めた薬価をまとめたリストのことです。厚生労働省の諮問機関である中央社会保険医療協議会（中医協）において、

薬価算定に関する審議を経た後に、薬価基準に公定価格や品名などが収載されます。

この薬価基準に収載されることで、保険医療で使用できる医薬品となることから、薬価基準は、病院などの医療機関で、通常使用される医薬品を定めた品目表としての機能を有しています。

薬価基準に収載されている医薬品は成分数で約3,000成分であり、品目数はジェネリック医薬品も含め、約13,000品目になります（1-2）。品目数が増える理由は、患者さんの年齢、体重や病状に

1-2 薬価基準収載品目数

	内 用 薬	注 射 薬	外 用 薬	歯科用薬剤	合 計
2024	7,339	3,624	2,067	26	13,056

注：2024年10月1日適用。

●出典：厚生労働省「薬価基準収載品目リスト及び後発医薬品に関する情報について」

くすりの知識

●くすりの「主作用」と「副作用」

すべてのくすりは、本来の目的である有益な作用の「主作用」と、期待しなかった作用の「副作用」の両方の作用を持っています。

副作用が起きる要因としては、

- ①くすりの性質によるもの
- ②くすりの使い方によるもの
- ③患者さんの体質によるもの
- ④患者さんのそのときの病状によるものの4つがあげられます。

副作用の症状には、眠気、のどの渇き、発疹、かゆみ、胃痛、吐き気、めまい、けいれん、下痢など、さまざまなものがあります。くすりを使用した後でいつもと違う症状がみられたら、まず医師や薬剤師に相談することが必要です。

●くすりの剤形

くすりには大きく分けると、内服薬、注射薬、外用薬などの剤形があります。

- ①内服薬：錠剤、カプセル剤、顆粒剤は「飲みやすく」「携帯に便利」「保存もしやすい」ことからよく使われています。
- ②注射薬：速効性があります。静脈注射の場合、血液に入って1～3分で患部に届き、速く効果を発揮します。
- ③外用薬：軟膏、貼付剤などは、皮膚を中心にくすりの成分を吸収させます。

体内に吸収されて効果を発揮するために、くすりにはさまざまな工夫を凝らした形状が開発されています。さらに、求められるニーズに応えるため、新たな剤形が開発されるケースもあります。たとえば、腸溶剤のように胃酸で分解されやすいくすりの表面をコーティングして、胃で分解されずに腸で吸収させるように工夫した剤形があります。また、速く効かせたいくすりや消化管で分解されるくすりは、注射薬にして皮下や筋肉・血管内などに注入するようにします。このようにくすりの剤形には、それぞれに目的と意味があります。

●くすりの「用法」「用量」

くすりの「用法」「用量」とは、くすりの使用法と使用量のことです。患者さんの病態や併用薬、年齢や体重なども考慮して、効果的に血中濃度を維持し、かつ安全に使うために守らなければならない重要なルールです。

くすりを決められた量以上に飲むと、血中濃度が必要以上に上昇し、かえって害を及ぼすことがあります。反対に、くすりが少ない場合には血中濃度が有効な濃度まで上らず、効果が発揮されません。「くすりは決められた時間に決められた量を飲む」ことが重要です。

合わせて適切な投与ができるように、医薬品にはさまざまな工夫がなされており、同一の成分でも剤形（錠剤やカプセルなど）や、規格（5mg 錠や10mg 錠など）の異なる製品が複数用意されているからです。そして薬価は、これらの異なる剤形や規格ごとにそれぞれ定められています。

また、薬価基準に記載されているのは、基本的には治療に用いる医薬品のみです。予防のためのワクチン、生活改善薬として分類される経口避妊薬（ピル）や脱毛症治療薬などは、製造販売に際して厚生労働省による承認が必要なのは変わりませんが、公的医療保険が適用されないため、薬価基準には記載されていません。

（4）医薬品の適正使用

医薬品が有効かつ安全に効果を発揮するためには、患者さんの病状や体質に合わせて適切に使用される必要があります。「医薬品の適正使用」とは、的確な診断に基づき、患者さんの症状に合った最適な薬剤と適切な用法・用量が決定され、これに基づき調剤されること、次いで患者さんに薬剤についての説明が十分になされて理解され、正確に使用された後、その効果や副作用が評価され、処方に反映されるという一連のサイクルです。

製薬企業は、医薬品が持つさまざまな情報を医療の現場に提供する義務があります。医療の現場では、これらの情報が患者さんのために有効に活かされ、患者さん自らが治療に積極的に参加することが必要です。

処方する医師や調剤する薬剤師などに加え、患者さんを含めたすべての関係者の理解と協力により、それぞれの責任と役割を果たすことが医薬品の適正使用のために不可欠となります。

（5）医薬品医療機器等法に基づく規制の仕組み

医薬品医療機器等法は、医薬品をはじめ、医薬部外品、化粧品、医療機器、再生医療等製品の品質、有効性、安全性を確保することを目的とした法律です。

新薬についても医薬品医療機器等法で定義されており（第14条の4第1項）、すでに承認を得ている医薬品と比べて有効成分、分量、用法、用量、効能、効果などが明らかに異なる医薬品として、厚生労働大臣が製造販売承認の際に指定するものをいいます。さらに新薬は、厚生労働大臣の再審査を受けることが義務づけられています。

医薬品医療機器等法は1960年に薬事法として制定され、科学技術の進歩や社会情勢の変化に合わせて順次見直しが行われてきました。

●先駆け審査指定制度（先駆的医薬品指定制度）、条件付き早期承認制度の法制化

新たに「先駆け審査指定制度（先駆的医薬品指定制度）：世界に先駆けて開発され早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、優先審査等の対象とする仕組み」および「条件付き早期承認制度：患者数が少ない等により治験に長期間を要する医薬品等を一定の有効性・安全性を前提に、条件付きで早期に承認する仕組み」を定めた。

●医薬品等の製造方法等の変更に関する制度の見直し

最終的な製品の有効性、安全性に影響を及ぼさない医薬品等の製造方法等の変更について、事前に厚生労働大臣が確認した計画に沿って変更する場合に、承認制から届出制に見直した。

●添付文書の電子化

適正使用の最新情報を医療現場に速やかに提供するため、添付文書の製品への同梱を廃止し、電子的な方法による提供を基本とした。

●法令遵守体制等の整備

許可等業者に対する法令遵守体制の整備（業務監督体制の整備、経営陣と現場責任者の責任の明確化等）を義務づけた。

●緊急承認制度の新設

緊急時において、安全性の確認を前提に、医薬品等の有効性が推定されたときに、条件や期限付きの承認を与える迅速な薬事承認を可能とするため、①適用対象となる医薬品等の条件、②運用の基準、③承認の条件・期限、④迅速化のための特例措置、という仕組みを新たに整備した。

●トレーサビリティ（製品追跡）向上のためのバーコード表示

トレーサビリティ（製品追跡）向上のため、医薬品等の包装等へのバーコード等の表示を義務づける。

●電子処方箋の仕組みの創設

医師等が電子処方箋を交付することができるようにするとともに、電子処方箋の記録、管理業務

等を社会保険診療報酬支払基金等の業務に加え、当該管理業務等に係る費用負担や厚生労働省の監督規定を整備する。

新たな感染症対策

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の世界的流行（パンデミック）に伴い、日本では政府や自治体によるさまざまな感染対策が実施されてきました。しかし、経済活動が再開され流行以前の社会状況に戻る中で、COVID-19 対策にかかる措置は終了または変更され、次なる感染症危機に備えた感染症対策へと切り替えが進んでいます。

●COVID-19 対策の変化

COVID-19 の感染症法上の位置付けは、2023 年 5 月 8 日に 2 類感染症相当から 5 類感染症に移行されました。これにより、新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）感染者や接触者に対する外出自粛要請や入院勧告などの措置がなくなり、COVID-19 患者の受け入れは幅広い医療機関で担う体制となり、無料で行われていた検査や診療などの医療費が自己負担になりました。また、流行状況の把握についても全数把握から定点把握に変更されました。

2024 年 4 月には COVID-19 に対する種々の特例措置が廃止され、特例臨時接種として実施されていた SARS-CoV-2 ワクチンの無料接種が終了となり、接種対象を 65 歳以上または 60 ～ 64 歳で重症化リスクのある場合に限定し、原則的に接種費用が一部自己負担となる B 類疾病用ワクチンとして、年 1 回の定期接種に切り替わりました。

また、COVID-19 治療薬に関しても、薬剤費の上限額を超える金額に対する公費負担が廃止されました。これにより、特例措置下ではいずれの治療薬も薬剤費の自己負担は同額でしたが、薬価ごとに自己負担割合に応じた通常の窓口負担が生じるようになりました。

●「内閣感染症危機管理統括庁」の創設

COVID-19 対策が終了となる一方、依然として世界各国では COVID-19 の流行が継続しており、日本でも終息には至っていません。また、海外ではデング熱の増加やエムボックス（サル痘）などの発生が報告されており、外国人旅行者など海外からの人流が増大した昨今の日本では、新たな感染症や未知の感染症が流行する可能性が危惧されています。

このような背景から、内閣府は 2023 年 9 月 1 日に COVID-19 のパンデミックでの経験に基づき「内閣感染症危機管理統括庁（統括庁）」を発足させました。統括庁は内閣官房の中に設置され、新型インフルエンザなどの国民が免疫を持たない未知の感染症の流行といった感染症危機に備え、平時は政府行動計画の策定や訓練の実施などに従事し、有事の際には初動対応や政府全体の感染症対策を一元化して指揮する機関となります。

また、統括庁の発足に合わせて、厚生労働省は健康・生活衛生局内に同庁と連携し、感染症対策の策定や有事対応に当たる感染症対策部を新設しました。さらに、2025 年 4 月 1 日には国立感染症研究所（感染研）と国立国際医療研究センター（NCGM）を統合した専門家組織「国立健康危機管理研究機構（JIHS）」が設立される予定です。JIHS は米・疾病対策センター（CDC）をモデルに「日本版 CDC」として、感染症に関する情報収集や分析を行い、科学的な知見を統括庁などに提供する役割を担います。

●『新型インフルエンザ等対策政府行動計画』の改定

2024 年 7 月 2 日に統括庁により、国民を脅かす感染症への対応をまとめた『新型インフルエンザ等対策政府行動計画』が 2013 年以来約 10 年ぶりに全面改定されました。今回の改定では、COVID-19 への対応経験を整理し、関係法令などを整備、統括庁や JIHS の設立など感染症危機に対応する体制の構築、国と都道府県間のガバナンス強化など、行動計画の抜本的な拡充が図られています。

具体的には、新型インフルエンザや COVID-19 だけでなく、その他の呼吸器感染症も対象に含められ、中長期的に複数回の感染拡大が起きる事態を想定しています。また、対策は準備期、初動期、対応期の 3 期に分けて記載され、中でも準備期の内容が重点的に拡充されました。対策項目は水際対策や検査、ワクチンなど COVID-19 対策で課題となった項目を独立し、全 13 項目に増設されました。今後、政府行動計画への取り組み状況を毎年評価させ、おおむね 6 年ごとに内容が見直される予定です。

2. 創薬（新薬の研究開発と承認）

新薬は、通常 10 年以上の年月をかけて、基礎研究・非臨床試験・臨床試験（治験）の過程を経て有効性、安全性が検討されます。検討の結果、有効性が検証され安全性に問題がないことが確認された後、厚生労働省に承認申請を行います。その後、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA：Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）で審査を受け、厚生労働大臣の承認と薬価収載を経て保険適用となり、初めて患者さんに処方できる医薬品が誕生します（1-3）。この医薬品の誕生までのプロセスを、くすりを創るという意味で「創薬」と呼びます。つまり創薬は、数々の研究・試験と審査・承認に至るまでのプロセスのすべてを含んでいます。

創薬により生み出された新薬は、病気の治療・予防に役立つのはもちろん、創薬を通じて、医学・薬学をはじめ化学・工学など、さまざまな分野の先端研究が促進され、科学技術の発展をもたらします。

（1）新薬の研究開発と動向

これまで製薬企業は、有機合成や発酵、動植物からの抽出・精製などによって得られた物質を、薬効スクリーニングにかけて、新薬を探してきました。また、動物組織から抽出していたインスリンや成長ホルモンなどは、遺伝子組み換え技術により大量生産が可能となり、医療に貢献してきました。

近年では、遺伝子情報に基づいて特定のがんに優れた効果が期待できる抗がん薬も開発されています。たとえば、がんを増殖させる因子を抑える医薬品や、病気になったときに免疫として働く抗体を利用した医薬品（抗体医薬）などがあります。抗体医薬は、がんだけではなく、リウマチなどを対象としたものもあります。最近になって、遺伝子情報を伝える「核酸」を応用した医薬品（核酸医薬）も登場してきており、これまで治療が難しかったがんや遺伝子の難病などへの応用も期待されています。新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の予防や感染症状を軽減するメッセンジャー RNA（mRNA）ワクチンも核酸医薬のひとつです。

今後は、ヒトのゲノム解析をすることで病気の原因となる遺伝子を見つけたり、細胞内のタンパク質の発現状況について病的な状態と正常な状態とを比較して病気に関係するタンパク質を見つけたりして、画期的な新薬開発につなげることが期待されています。また、新しい医薬品の開発を効率的に進めるために、ゲノム解析から得られたタンパク質の構造を大型放射光施設や高磁場核磁気共鳴装置、あるいは最新技術であるクライオ電子顕微鏡などを利用して解析する研究や技術開発も行われています。

さらに、がんや自己免疫疾患などの治療を可能にする、新しいメカニズムを持つ医薬品として注目されているのが、がん免疫療法です。わが国の研究成果が基になったがん免疫チェックポイント（PD-1）阻害薬によって、がんの増殖を抑制することが確認されており、2014 年から医療現場で使用されてきました。現在は、このくすりを使用できるがんの種類も多くなってきています。また、がん細胞の表面に見られるタンパク質のかけら（ペプチド）を合成してワクチンとして体内に入れ、免疫細胞を活性化させてがんを抑えるがんワクチンも、世界各国で研究が進められています。

(2) 治験環境の変化

新薬の創出に向けて、ヒトにおける効果や安全性を調べる重要なものが治験です。治験は、製薬企業が医療機関に依頼し、治験審査委員会で実施の承認を得た後、医師などから患者さんに十分な説明を実施し、患者さんの同意（インフォームド・コンセント）を得て初めて実施することができます。

治験の際の基準となるのがGCP（Good Clinical Practice：医薬品の臨床試験の実施基準）です。もともとは臨床試験に携わる治験担当医師・医療機関・製薬企業などが遵守すべき基本ルールを規定するものでしたが、1997年施行の新GCPでは、治験依頼者（製薬企業）の役割と責任が明確化かつ大幅に強化されるとともに、医療機関や医師などについても規定が整理され、一段と高い質が要求されるようになりました。

さらに2012年に、国際的な整合性を図りつつ、医師主導治験の負荷を軽減し、アンメット・メディカル・ニーズにおける産学連携を促進するものとして、GCPガイダンスも作成されています。

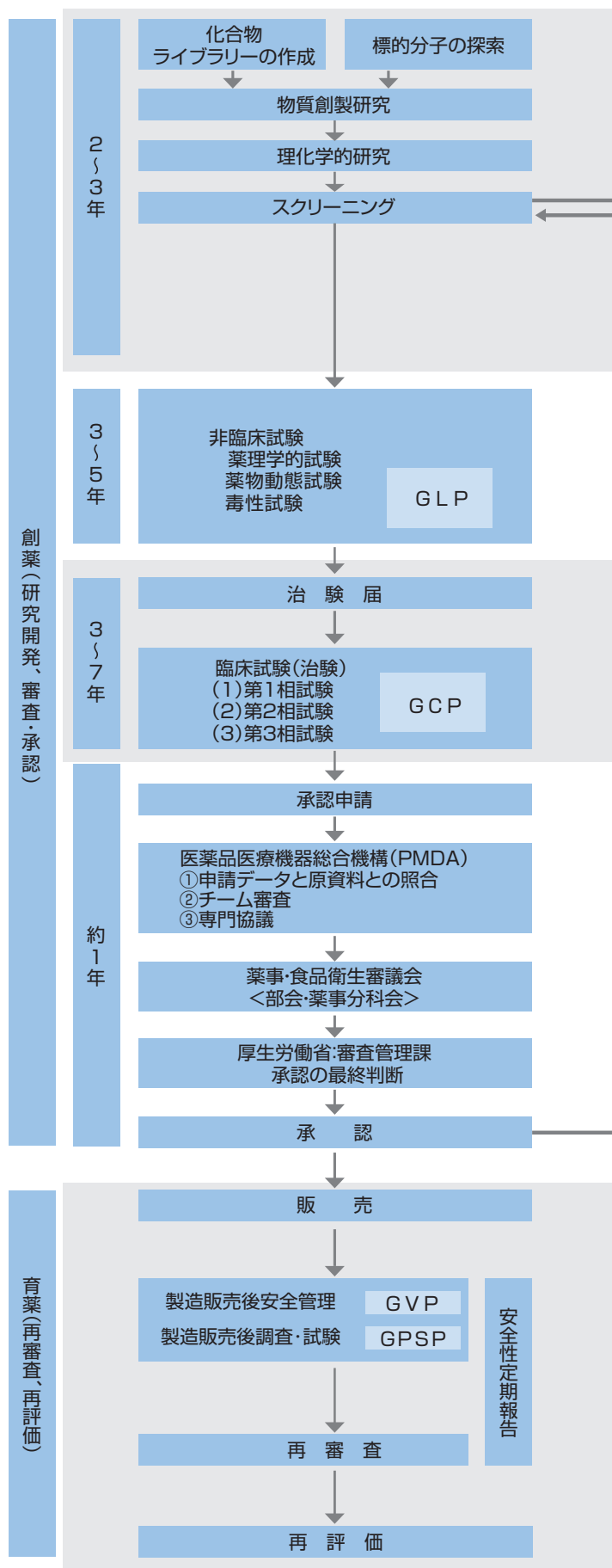
このような状況の中、適正かつ円滑な治験をサポートするため、治験に関わる業務の一部を受託する機関の役割が重要となります。これには、CROとSMOの2種類があります。

CRO（Contract Research Organization）とは、治験の実施・データ管理など治験依頼者側の業務を受託する開発業務受託機関であり、治験関連資料の作成やモニタリングなどの業務を行っています。

一方のSMO（Site Management Organization）とは、実施医療機関での治験の実施に関わる業務の一部を受託する治験施設支援機関であり、医療機関側の業務の支援を行っています。

製薬協では、治験に関わる制度の見直しを含め、新薬開発に果たす治験の意味と意義についての一般向け啓発、臨床薬理学や生物統計学の普及・充実などにより、治験の円滑な実施を支援しています。

1-3 新薬の研究開発・承認・製造販売後調査のプロセス



- 化合物ライブラリーの作成：化合物を合成・培養・抽出などにより広範に収集し、数十万から数百万の化合物群からなるライブラリーを作成。
- 標的分子の探索：ゲノム、プロテオーム解析などを通じて、病態に関わると考えられる標的分子を見つけ出す。

化合物の最適化

- スクリーニング：多くの化合物の中からハイスループット・スクリーニング（HTS）などの手法で、新薬の候補化合物を見つけ出すプロセス。
- 化合物の最適化：候補化合物を基に、化学的性質や分子の大きさを変化させるなどの化合物修飾を行った複数の化合物を作り出し、スクリーニングを繰り返すことで、薬効・安全性の両面から最適化された新薬候補化合物を選び出す。

- 薬理学的試験：効力を裏づける試験として、期待している効能・効果の裏づけを調べたり、治療用量以上に投与して主な生理機能に望ましくない作用があるかを調べる。
- 薬物動態試験：体内でどのように吸収され、分布、代謝され、排泄されるかなどを調べる。
- 毒性試験：細胞や動物を用いて試験を行い、短期・中期・長期に分けて安全性を調べ、また発がん性や胎児への影響がないかなど定められた目的についての安全性を調べる。

こうしたことを徹底的に調べ、ヒトに対する安全性を予測したうえで臨床試験に移る。

- 治験：新薬の承認申請に必要なデータを収集するためにヒトを対象に行う試験。被験者に試験の目的や内容を十分に説明し、文書による同意を得ることが求められている（インフォームド・コンセント）。
- 第1相（フェーズⅠ）：同意を得た少数の健康志願者を対象に、主に安全性や薬物動態を調査する。
- 第2相（フェーズⅡ）：同意を得た少数の患者さんを対象に、有効で安全な投薬量や投薬方法などを確認する。
- 第3相（フェーズⅢ）：同意を得た多数の患者さんと、二重盲検試験などにより、既存薬などと比較して新薬の有効性・安全性を確認する。
- 製剤開発：新薬の実生産に向けて、製品の規格や試験方法などを設定するとともに、GMPに適合した治療薬を供給する。
- 承認申請：医療上の有効性と安全性が確認された新薬について、製薬企業は厚生労働省に製造販売承認の申請を行う。これを受けて厚生労働省はPMDAの審査にかけ、その結果を厚生労働大臣の諮問機関である薬事・食品衛生審議会に諮る。審査を通過したのものには、厚生労働大臣から製造販売承認が与えられる。

- 審査：承認申請資料の審査は、医学・薬学・生物統計学などの分野別の専門官によるチーム審査で行われ、さらに臨床家などの立場からの専門委員の意見を踏まえて審査報告書が作成される。

薬価基準収載申請

薬価基準収載

- 薬価基準収載申請：製薬企業は製造販売承認が与えられた新薬について、薬価基準収載の申請を行う。
- 医薬品リスク管理計画（RMP）：個々の医薬品について安全性上の検討課題を特定し、使用成績調査、市販直後調査などによる調査・情報収集（医薬品安全性監視活動）や、医療機関者への追加の情報提供などの医薬品のリスクを低減するための取り組み（リスク最小化活動）を、医薬品ごとに文書化（計画）したもの。
- 医薬品安全性監視計画：医薬品の承認時や製造販売後に、重要な特定されたリスク、重要な潜在的リスクおよび重要な不足情報を安全性検討事項として集約し、それを踏まえて計画する医薬品安全性監視活動のこと。
- 市販後調査（PMS）：市販後は、より多くの幅広い患者さんに投薬されるため、開発段階で発見できなかった副作用などの適正使用情報の収集・検討や対応が義務づけられている。
- 製造販売後安全管理（GVP）：副作用自発報告などの安全性情報を収集し、検討のうえ、安全対策をとるための基準が定められている。
- 製造販売後調査・試験（GPSP）：製造販売後に実施する使用成績調査・製造販売後データベース調査・製造販売後臨床試験のために基準が定められている。
- 再審査：新薬は通常承認後8年（4年または6年のものもある）、オーファン・ドラッグや長期の調査が必要なものは10年以内に、その間に収集された情報により有効性・安全性の再審査を受けるよう義務づけられている。
- 再評価：今日の医学・薬学などの学問水準に照らして、品質、有効性および安全性を確認するもので、すべての医薬品が対象となる。
- 安全性定期報告：日本での承認後、厚生労働大臣の指定した日から起算して6カ月ごとに2年間、以後は1年ごとに原則として再審査期間の終了まで、国内外の安全性に関する情報の報告を義務づけられている。

(3) 承認申請と国際規制調和の動向

医薬品の承認審査の実務は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が行います。PMDA は医薬品・医療機器・再生医療等製品（以下、「医薬品等」）の審査業務に加えて、市販後の安全対策業務、医薬品などによる副作用・生物由来製品を介した感染などによる健康被害の救済業務の3点を主な業務としています。

PMDA では審査関連業務として、医薬品などの開発段階での相談および承認申請資料の信頼性調査を行っており、治験前の段階から承認、市販後までの一貫した相談・審査体制が敷かれています。PMDA の審査結果を受けて、厚生労働省が、薬事・食品衛生審議会に承認の可否などについて諮問し、厚生労働大臣が承認を行います。

承認申請や承認に関わる制度は国によって異なります。国ごとの制度で要求される資料を提出し、その国での承認を得る必要があるからです。

医薬品規制調和国際会議（ICH）は、日米欧の規制当局（日本では厚生労働省 / PMDA）による新薬承認審査基準の国際的な統一を図るため、1990年に会議体として発足し、医薬品の承認に際して必要な品質・有効性・安全性に関わるデータ収集などのガイドラインの作成、および承認申請提出書類の書式などの標準化を進めてきました。しかし、

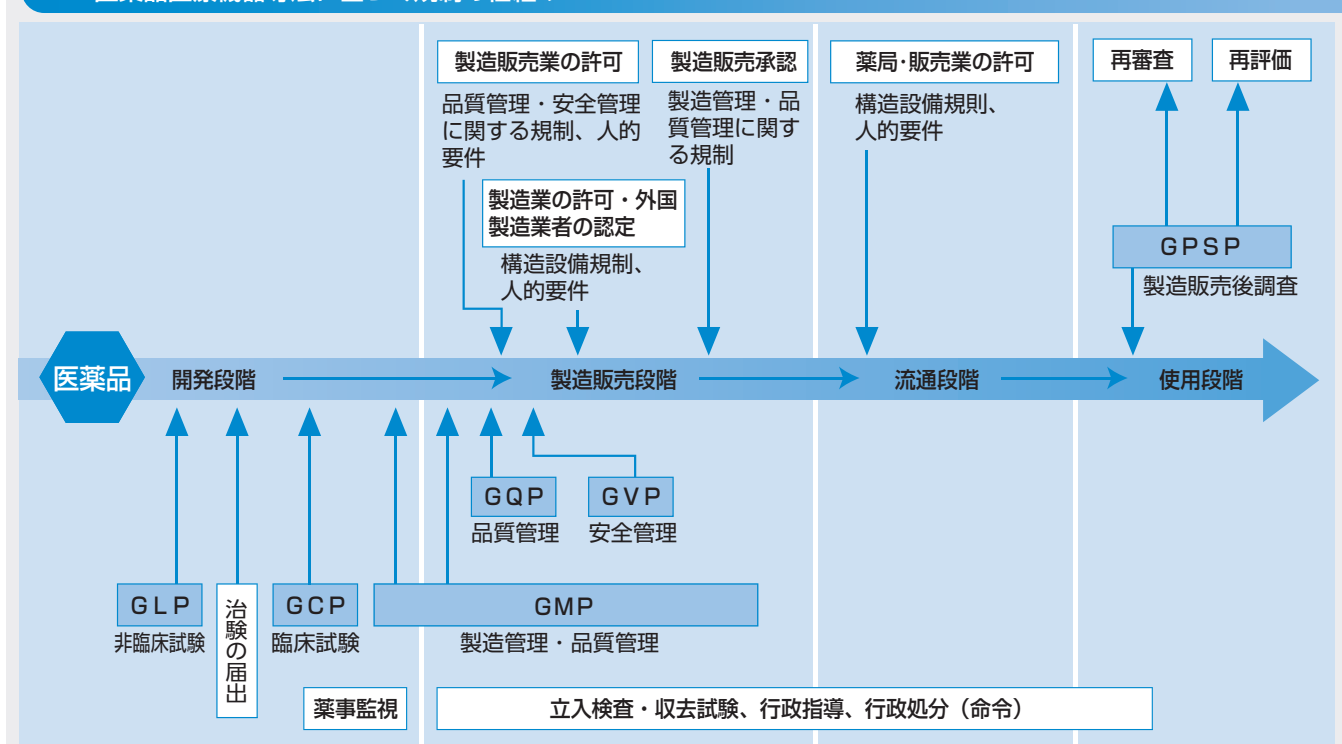
医薬品のグローバルでの開発や患者さんへの提供をさらに促進するため、スイス法人格を有する協会組織に改変し、日米欧の3極以外の地域の規制当局や、グローバルの業界代表も加わることとなりました。2015年12月に「第1回医薬品規制調和国際会議」が開催され、新たなICHがスタートしています。新ICHは、ICH 会員8団体、ICH オブザーバー2団体でスタートしましたが、2024年11月現在でICH メンバーは23団体、ICH オブザーバーは38団体まで増加しています。

(4) 再審査期間とジェネリック医薬品

新薬（先発医薬品）は、長い研究開発期間をかけて新しい成分の有効性・安全性が確認された後、国の承認を受けて発売される医療用医薬品です。新薬を開発した製薬企業には、販売後も一定の期間（再審査期間）、有効性・安全性について確認することが義務づけられています（1-4）。

新薬の再審査期間が終了し、特許権存続期間が満了すると、新薬（先発医薬品）と同じ有効成分の医薬品を、ジェネリック医薬品（後発医薬品）としてほかの製薬企業が製造・販売することが可能になります（1-5）。後発医薬品を製造・販売するには、厚生労働省による製造販売承認を取得する必要があります。このとき、先発医薬品と有

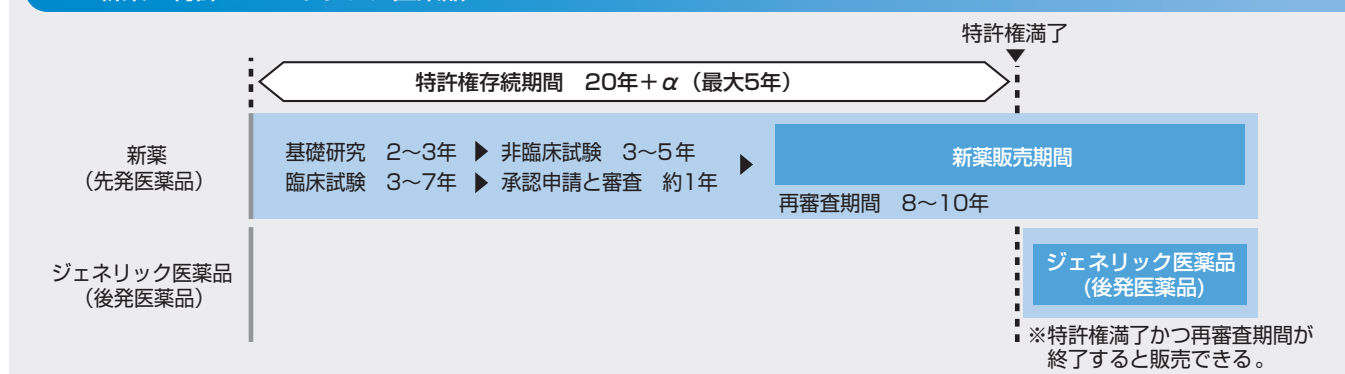
1-4 医薬品医療機器等法に基づく規制の仕組み



効成分が同じであることを科学的に証明した資料などが求められます。なお、バイオ医薬品の場合は、化学合成医薬品と異なり、有効成分が先発医薬品

と同じであることを証明するのが難しいため、先行バイオ医薬品と同等／同質の品質、安全性および有効性を有することを証明します。

1-5 新薬の特許とジェネリック医薬品



医薬品に関する規制

医薬品は、開発から製造、流通、使用まで、数多くの規制をクリアしたうえで、患者さんのもとへ届けられます。

GLP Good Laboratory Practice：医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準

実施基準には、安全性に関する非臨床試験データの品質を管理して保証するために必要な試験施設の職員、組織、業務が規定されている。

GCP Good Clinical Practice：医薬品の臨床試験の実施の基準

ヒトを対象とした臨床試験について、医薬品医療機器等法上の規制だけでなく、科学的に適正でかつ倫理的な試験を実施し、データの信頼性を高めるために定められた基準。

GMP Good Manufacturing Practice：医薬品の製造管理及び品質管理に関する基準

医薬品の製造にあたって、承認を受けた規格どおりに一定した品質の製品を安定的に作るため、原料の受け入れから製品の出荷までの製造工程全般にわたる管理と、工場の建物・機械設備の配置などについて人為的なミスをなくすために定められた基準。

GCTP Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice：再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準

2013年の薬事法改正により、再生医療等製品の製造業と製造販売業の許可制度を基本とする新たな規制体系が適用されることとなり、医薬品のGMPとは区別して再生医療等製品での製造管理および品質管理の方法に関する基準として2014年に公布・施行された。

GQP Good Quality Practice：医薬品などの品質管理の基準

医薬品・医薬部外品・化粧品・医療機器の品質管理の方法に関する基準。2005年4月施行。GVPとともに、改正薬事法において新たに導入された製造販売業の許可要件のひとつ。製造販売業者は、GQPの規定に従い、市場に出荷された製品が品質、有効性および安全性を満たすため、自社および製造委託先の製造工程などを管理し、出荷後の品質や安全性等に関わる情報収集を適切に行うことが求められる。また、これらの業務を行う体制を確立、維持することが必要となる。

GVP Good Vigilance Practice：医薬品などの製造販売後の安全管理基準

医薬品・医薬部外品・化粧品・医療機器の適正使用情報の収集・検討・市販後安全確保措置の実施に関する基準。2005年4月施行の改正薬事法において新たに導入された製造販売業の許可要件のひとつ。GPMSP (Good Post-Marketing Surveillance Practice) の廃止に伴い新設。

GPSP Good Post-marketing Study Practice：医薬品の製造販売後調査及び試験の実施の基準

医薬品の再審査、再評価に係る調査および試験の実施に関する基準。体外診断用医薬品とパッチテスト用医薬品以外の医療用医薬品に適用。2005年4月、GPMSPの廃止に伴い新設。

GDP Good Distribution Practice：医薬品の輸送・保管過程における品質確保を目的とした基準

保管や出荷、配送のサプライチェーン全段階で、温度・湿度・光の影響などにより医薬品の品質が損なわれないよう保証する実践規範。従来、日本では日本医薬品卸売連合会の自主基準「JGSP (Japanese Good Supplying Practice)」で流通過程の管理を行ってきたが、2017年10月の偽造医薬品流通防止のための省令改正を受けて、2018年12月、厚生労働省より「医薬品の適正流通 (GDP) ガイドライン」の事務連絡が出され、PIC/S-GDPとの国際整合化が図られた。

(5) 医薬品開発と知的財産

新薬の開発には、10年以上の長い年月がかかるうえ、1つの低分子化合物が新薬として世に出る成功確率は約23,000分の1と極めて低く（1-6）、しかも膨大な研究開発費が必要です。ちなみに、日本の製薬企業大手10社の年間平均研究開発費は年々増加しており、2022年には約2,180億円にのぼっています（1-7）。

そのため、開発した医薬品の知的財産権を適切に保護できなければ、継続した新薬の研究・開発

が困難になります。そこで製薬企業は、開発した新薬を一定期間内独占排他的に製造販売するため、知的財産権、主に特許権を取得し保護します。

「特許権」は発明を保護する権利で、特許出願日から20年間保護されます。医薬品の場合は、医薬品医療機器等法に基づく製造販売承認が必要になり、その承認取得に長期間を要することから特許期間が侵食されるため、特例として最長5年間の存続期間の延長が認められる場合もあります。特許権は、先に出願した者に権利が付与されるため、

1-6 開発段階別化合物数と承認取得数

I. 低分子化合物

1) 5ヵ年間累計（2018～2022年度）

	化合物数	前の段階から移行した確率	累積成功率
合 成 化 合 物	445,345	—	—
前 臨 床 試 験 開 始	182	1 : 2,447	1 : 2,447
国内臨床試験開始	47	1 : 3.87	1 : 9,475
承認取得（自社）	19	1 : 2.47	1 : 23,439

注1：低分子化合物数は、コンビナトリアルケミストリーなどのケミカルライブラリーを除外。

注2：自社品（導入品は除外）に限り、剤形追加、効能追加は除外。

注3：累積成功率は、全化合物数に対する各段階の化合物数の比率を示す。

2) 年度別内訳

項目	2018	2019	2020	2021	2022	合計
合 成 化 合 物 数	89,949	92,298	94,034	91,465	77,599	445,345
前臨床試験開始数	46	26	51	34	25	182
国内臨床試験開始数	7	7	15	9	9	47
承認取得数（自社）	7	4	3	2	3	19
集計会社数	22社	20社	21社	21社	20社	

II. バイオ医薬品

項目	2018		2019		2020		2021		2022	
	抗体医薬	それ以外	抗体医薬	それ以外	抗体医薬	それ以外	抗体医薬	それ以外	抗体医薬	それ以外
前臨床試験開始数	9	21	12	8	15	14	16	22	19	67
国内臨床試験開始数	5	2	6	2	1	7	3	5	3	0
承認取得数（自社）	3	0	4	2	0	2	2	3	0	1
集計会社数	22社		20社		21社		21社		20社	

注：「それ以外」は、核酸医薬、ペプチド医薬、細胞治療、遺伝子治療などを指す。

●出所：日本製薬工業協会調べ（研究開発委員会メンバーのうち内資系企業の集計）

●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2024「A-7-9. 開発段階別化合物数と承認取得数（日本）- その1」

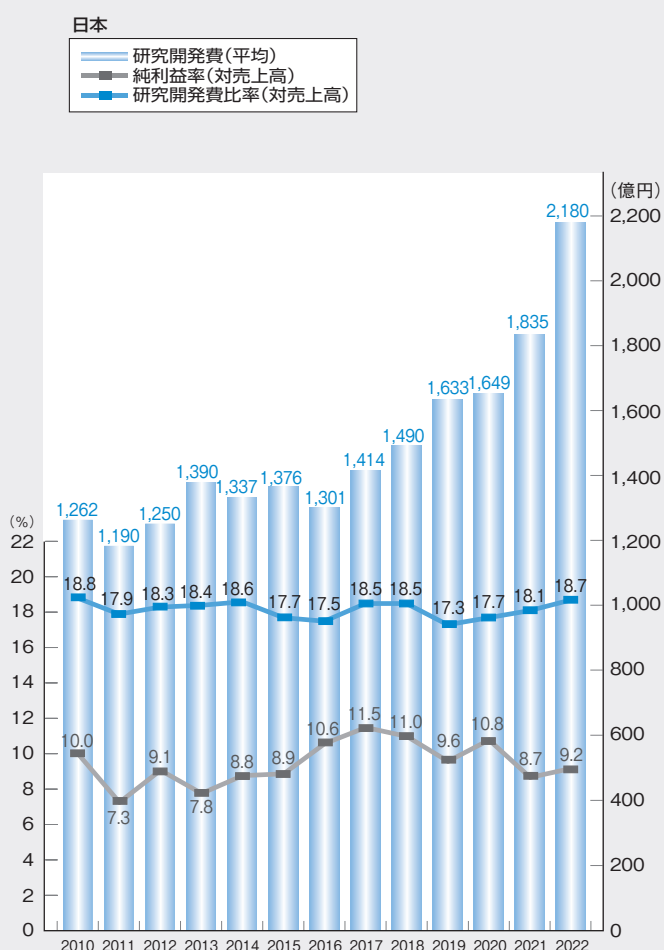
いかに早く特許出願をするかが、将来の事業化のための重要なカギになっています。また、バイオ医薬品、再生医療については、多数の関連する特許が存在し、1社ですべての特許を所有するのが困難な場合があります。このような場合には、オープンイノベーションの活用も重要となります。

医薬品に関係する特許には、物質そのものに対する特許で新規化合物・抗体などの医薬品そのものが独占的に保護される「物質特許」のほか、特定の物質の新しい効能・効果や安全性などの用途

に関わる「用途特許」、医薬品の安定化など製剤上の新しい工夫に与えられる「製剤特許」、まったく同一の医薬品であっても製造法が異なれば特許として認められる「製法特許」などがあります。

特許権と並んで、医薬品にとって重要な権利が「商標権」です。医薬品の販売名を商標登録しておくことで、同じ販売名や類似販売名をほかに使われないようにすることができます。ある医薬品の販売名と類似する販売名を、異なる会社の医薬品や異なる種類の医薬品に用いないようにすることで、医療安全の

1-7 日米製薬企業の研究開発費比率と利益の対売上高比率の推移

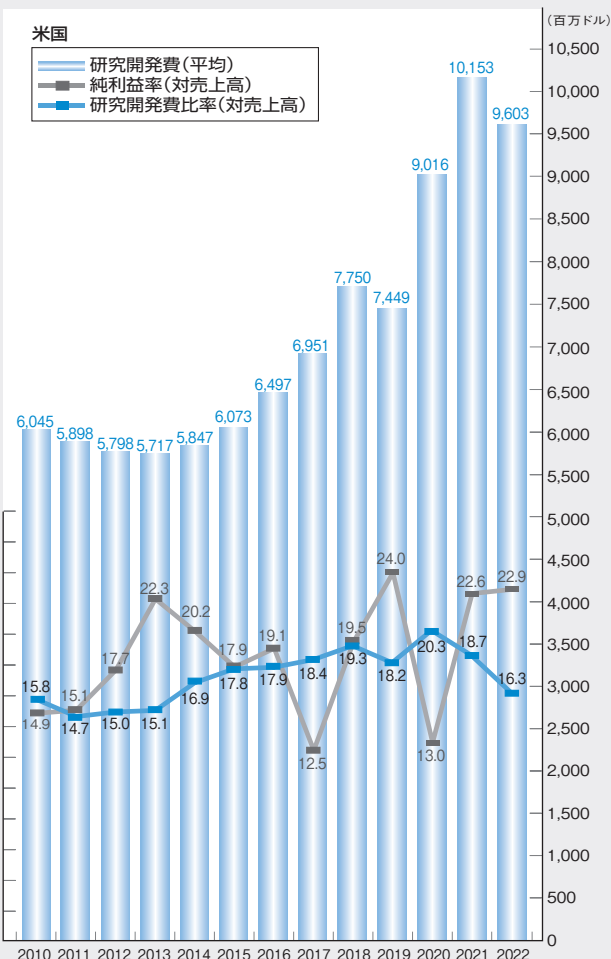


注：対象会社

2010～ 武田薬品工業、アステラス製薬、第一三共、エーザイ、大塚ホールディングス、田辺三菱製薬、大日本住友製薬、塩野義製薬、大正製薬、小野薬品工業

2019～ 武田薬品工業、アステラス製薬、第一三共、エーザイ、田辺三菱製薬、大日本住友製薬、塩野義製薬、小野薬品工業、大塚ホールディングス、協和キリン

●出所：SPEEDA(株式会社ユーザーベース)、有価証券報告書
●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2024「A-7-4. 製薬企業の研究開発費と利益率の推移(日本)」



注：対象会社

2010～13 Abbott、Amgen、Bristol-Myers Squibb、Eli Lilly、Johnson & Johnson、Merck、Pfizer
(MerckがSchering-Ploughを合併、PfizerがWyethを買収、2013年にはAbbottはAbbVieとAbbottに分社。2013年の計数は両者の計数を合算して1社とした)

2014～ AbbVie、Amgen、Bristol-Myers Squibb、Eli Lilly、Johnson & Johnson、Merck、Pfizer
(AbbottはAbbVieとAbbottに分社、AbbVieのみ集計)

●出所：SPEEDA(株式会社ユーザーベース)、アニュアルレポート
●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2024「A-7-5. 製薬企業の研究開発費と利益率の推移(米国)」

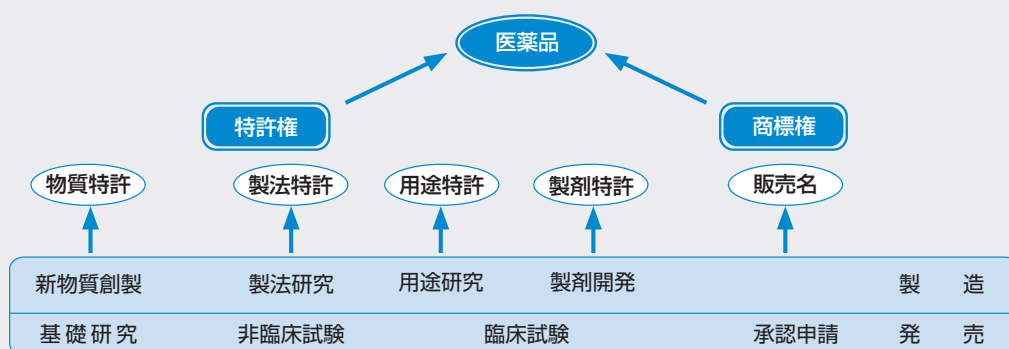
面からも誤認や誤用を防ぐことも可能です（1-8）。

商標権も、特許権と同様に独占排他的な権利で、権利期間は商標登録日から10年間です。ただし、この商標を継続的に使用していれば、更新手続きをすることで10年ごとの延長が認められます。

特許権などの知的財産を有効に活用して産業を

活性化するためには、質の高い知的財産を生み出し、それを迅速に権利として保護し、さらにそれらを活用することが求められます。知的財産戦略本部では、知的財産の創造、保護および活用に関する施策を集中的かつ計画的に推進するため「知的財産推進計画」を毎年策定しています。

1-8 医薬品と知的財産



ジェネリック医薬品に対する取り組み

ジェネリック医薬品（後発医薬品）とは、特許期間が満了した新薬（先発医薬品）と同じ有効成分の医薬品を、他の製薬企業が製造・販売するものです。臨床試験などの開発費負担がないため新薬に比べて原価が安く、薬価も低くなります。

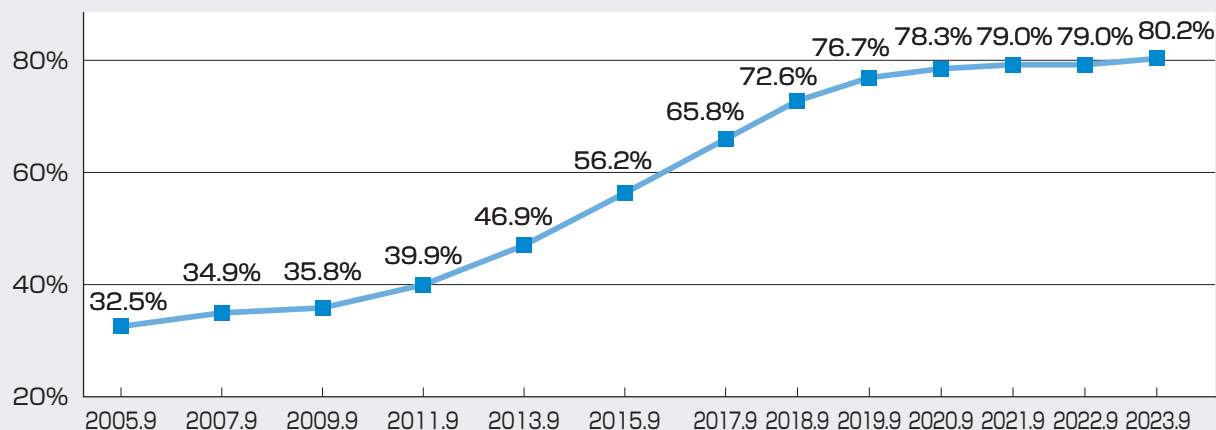
国内での医薬品全体におけるジェネリック医薬品のシェアは、年々増加しています（1-9）。

政府はこれまでジェネリック医薬品のシェア（数量ベース）目標を「2020年度9月末までに80%」と掲げていました。2020年度9月末には78%台と、わずかに目標には届かなかったもののほぼ目標水準に達しており、2023年にはシェア80.2%を達成しました。

ジェネリック医薬品の使用においては、都道府県の地域差などが課題とされており、都道府県別のシェアを見ると80%以上は29道県にとどまっていた（2021年度NDBデータ）。2021年には新たな目標として、「医薬品の安定的な供給を基本としつつ、後発医薬品のシェアを2029年度末までに全ての都道府県で80%以上」を掲げています。

近年、ジェネリック医薬品産業では、少量多品目生産といった構造的課題を抱えるため非効率的な製造が指摘されていま

1-9 ジェネリック医薬品の国内シェアの推移



●出典：厚生労働省「後発医薬品（ジェネリック医薬品）及びバイオ後続品（バイオシミラー）の使用促進について」参考資料1 使用割合の目標と推移

〔次頁に続く〕

す。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）違反を契機とした供給量の低下や、新型コロナウイルス感染症拡大による需要増加などの影響で、メーカーの限定出荷による供給不足が生じています。また、正確な供給状況の把握が困難なために、薬局や医療機関が先々の医薬品の確保に不安を感じて過大な注文を行うことによって、さらに需給がひっ迫するという悪循環が生じています。

政府はメーカーに在庫放出、増産対応のための生産体制の見直しを要請し、補正予算における支援などを打ち出しています。また、病院や薬局など医療機関に対しても供給状況の情報公表、調剤上の工夫、初期からの長期処方を含めることを求めるなどの働きかけを行っています。さらに新たな検討会を立ち上げ、少量多品目生産の構造の解消やジェネリック医薬品産業のあるべき姿の検討など、業界再編も視野に入れた議論を今後も継続していくとしています。

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロス

世界では毎年多くの新薬が登場していますが、海外で使用できるにもかかわらず日本では使えない場合があります。これは「ドラッグ・ラグ」「ドラッグ・ロス」と呼ばれ、大きな問題となっています。

ドラッグ・ラグとは、海外で承認・発売された新薬が日本で承認・発売されるまでに長い時間を要してしまうことです。ドラッグ・ラグには、承認審査期間に伴う「審査ラグ」と、開発期間に伴う「開発ラグ」が考えられます。近年では、日本の審査期間は欧米と比較しても遜色ない水準となっており、日本では開発期間に伴うドラッグ・ラグが顕在化していると言われています。

ドラッグ・ロスとは、海外で承認され既に使われているにもかかわらず、日本では製薬企業が開発に着手していない状態のことです。厚生労働省の集計（2023年3月時点）によると、海外で承認されているにもかかわらず国内で開発が未着手の医薬品は86品目（全未承認薬143品目の60.1%）に上ります。

ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスによる国内未承認薬の数は近年増加しており、特に治療レジメンの更新が目まぐるしいがん領域において顕著です。国内未承認の抗悪性腫瘍薬は2016年の21品目から2020年には44品目へと倍増しており、今後もさらなる拡大が懸念されています。例えば、近年さまざまながん種に用いられるようになった分子標的薬の抗HER2抗体薬では、米国で2020年にHER2陽性転移性乳がんの適応で承認されたmargetuximabがドラッグ・ロスの状態となっています。日本乳癌学会は『乳癌診療ガイドライン2022年版』で「今後日本での開発・承認が期待される」と記載していますが、国内での開発は着手されていません。

このようなドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスはなぜ生じるのでしょうか。ドラッグ・ラグが生じる背景には、臨床試験開始までの期間や規制当局による審査期間など、日本と海外の制度上の違いが影響しています。そこで医薬品医療機器総合機構（PMDA）では、ドラッグ・ラグ対策として、主に①製薬企業による国際共同臨床試験の促進、②国による臨床研究ネットワーク体制の整備、③PMDA審査員の増員—の3点に注力しています。①では、日本の製薬企業が国際共同臨床試験を実施することで、開発と承認申請を海外と同時に行うことができ、日本での臨床試験の開始時期を早期化することが期待できます。②では、臨床研究中核病院などのコアセンターを中心に複数の病院をネットワーク化することで、臨床試験に要する時間の短縮を目指します。③では、経験のあるPMDA審査員を増やすことで審査プロセスの迅速化を目指しています。PMDAの試算によると、これらの取り組みによりドラッグ・ラグは、2018年度の0.9年から2022年度には0.4年へと短縮しています。

一方、ドラッグ・ロスについては製薬企業から見た日本市場に対する評価が影響しているとされます。日本では薬価が公定価格として原則2年に1回改定されますが、欧米と比べ低く設定されることも多く、近年の日本市場の成長性の低さも相まって、海外の製薬企業が日本での開発に消極的になっているとの指摘もあります。特に海外のベンチャー企業や市場規模が小さい希少疾患、小児疾患の領域では日本での開発が進みにくいとされ、2023年3月の時点では、国内で開発未着手の医薬品86品目のうち、ベンチャー企業によるものが48品目（56%）、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）は40品目（47%）、小児用医薬品は32品目（37%）に上りました（1-10）。

こうした現状を踏まえ、厚生労働省では2022年8月から「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」を開催し、2023年6月に報告書を公表しました。それによると、薬事面での環境整備を進めると同時に、ドラッグ・ロス解消に向けて日本市場の魅力を向上させる薬価制度上の対応として、革新的医薬品に対する新たな評価方法やインセンティブの検討、ベンチャー企業開発品目に対する新薬創出等加算に関する評価の検討などが提言されました。また、同年7月からは同検討会を引き継ぐかたちで「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」

が設立され、オーファンドラッグ指定や小児用医薬品の審査のあり方などが検討されました。

製薬協でも、ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロス解消に向けて積極的な取り組みを進めています。国内の製薬企業に対してドラッグ・ロスが生じている品目に関する聞き取り調査や、海外ベンチャー企業に対する情報発信も今後検討を行っていきます。薬事・薬価の環境整備においても、厚生労働省による「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」への参画や効果検証を進めています。2024年7月にはドラッグ・ロスに関するステートメントを発出し、「患者さんに必要な医薬品を、スピード感をもってお届けできるよう、国と協力してドラッグ・ロス解消に向けて取り組んでまいります」と宣言しました。

治療に使用できる医薬品が存在する以上、患者さんの命と健康を守るために、制度や市場の壁を越えて患者さんの手元に届ける必要があります。治療を待つ患者さんのために、ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの解消が望まれます。

1-10 ドラッグ・ロスの現状

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況 (品目数)

	承認済	未承認合計	未承認の内数 開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	オーファン	小児
56% (48品目)	47% (40品目)	37% (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

●出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

（厚生労働省、創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制のあり方に関する検討会資料）

3. 育薬（医薬品情報の収集・提供）

新薬が発売された後、製薬企業は、医療機関や患者さんの協力のもと、継続して新薬に関する情報の収集を行い、患者さんにとってより使いやすく有用性の高い医薬品へと育て上げていきます。この活動を「育薬」と呼んでいます。

育薬では、創薬の段階で発見できなかった副作用の把握や、数多くの患者さんの実際の使用状況の情報も収集します。これらの活動を通じて新薬のより確かな有効性と安全性を明らかにしたうえで、より適正に使うための対応方法が検討され、その結果は医療機関へ伝達されます。この活動は、医薬品が上市されている限り継続して行われます。

また、製薬企業は患者さんや医療機関からの声を基に、効能・効果の拡大、より服用しやすい剤形の改良、より使いやすい包装形態の開発、間違った飲み方やほかの医薬品との取り違いを防ぐ表示内容への改善などを継続的に行っています。このように育薬は、創薬と並んで重要な活動です。

（1）医薬情報担当者（MR）による 情報の収集・提供・伝達

医薬品は「情報を伴った化学物質である」といわれています。効能・効果、用法・用量、作用機序、副作用などの情報に基づき、適正に使用されて初めて医薬品としての目的が達成されるからです。個々の医薬品には、適正に使用するための情報が添付されていますが、それだけでは不十分な場合もあります。

そこで、医薬品に関する情報の担い手となるのが、医薬情報担当者（MR：Medical Representatives）です。製薬企業を代表して、医薬品の適正な使用と普及を目的に、医師・薬剤師など医療関係者に、医薬品の品質・有効性・安全性などに関する情報を収集・提供・伝達することを主な業務としています。

医療の多様化や医学・薬学の急速な進歩に伴い、医療関係者から求められる医薬品の情報は年々高度化・専門化しています。これに対応して1997年から、第三者機関である公益財団法人MR認定センターにより、MR認定試験が実施されています。認定試験は現在、年1回・12月に実施され、2023年の第30回試験までに（第27回を除く）延べ167,962人が受験し、合格者数は133,522人で、合格率は79.5%となっています。また、「2024年版MR白書－MRの実態および教育研修の調査－」によると、2023年度では68,473人が製薬企業などでMRとして実際に活動していると考えられています。

MR認定制度は、認定証取得後も定期的・計画的な継続教育を修了することで認定が更新されます。また、認定制度は、MRにとって自己研鑽の場となり、MRの社会的評価を高めることにもつながります。その結果、医療関係者からの評価と信頼がより高まり、医療の一翼を担うという誇りをもって業務に専念できる環境が整っています。

今後、医薬品情報がますます高度化・専門化していく中、MRは医療関係者に対して的確な情報を迅速に提供することが求められます。同時に、治験の段階では得られなかった未知の副作用などを医療の最前線から収集し、さらにその分析・検討・評価の結果を医療関係者などに的確に伝達（フィードバック）することも欠かせません。医薬品情報、中でも育薬における情報の担い手として、MRの重要性には非常に高いものがあります。

(2) ファーマコビジランス (PV)

新薬は、数多くの研究や試験を経て、安全性、有効性および品質が確保されたのち販売されます。

しかし製造販売後には、より多数・多様な患者さんに使用されるので、臨床試験段階で発見できなかった安全性の懸念などが見つかる場合があります、それらのデータを収集・分析・検討し情報提供することが義務づけられています。これを「ファーマコビジランス」(PV: Pharmacovigilance)と呼んでいます。なお、研究開発型の製薬企業では、研究開発段階から製造販売後までの一貫した活動をPVとして捉える企業も増えています。

製造販売後の安全対策は、医薬品の適正な使用方法（適正使用）を確立し、適正使用に関する情報を伝達・提供することを目的に、「再審査制度・安全性定期報告」*、「再評価制度」*、「副作用・感染症報告制度」*などから構成されます。2005年4月の改正薬事法の施行時、それまでの「医薬品の市販後調査の実施に関する基準（GPMSP: Good Post-Marketing Surveillance Practice）」が廃止され、安全性情報の収集から伝達までを規定した「医薬品などの製造販売後の安全管理基準（GVP: Good Vigilance Practice）」と、「医薬品の製造販売後調査及び試験の実施の基準（GPSP: Good Post-marketing Study Practice）」として新設されました。

また、2013年4月以降に承認申請を行う新医薬品とバイオ後続品（バイオシミラー）には、医薬品リスク管理計画（RMP: Risk Management Plan）を策定することとなりました。

●再審査制度・安全性定期報告

再審査制度とは、新医薬品として承認されてから、その有効性、副作用などの安全性確認のために再審査を申請する制度で、承認後原則8年（効能追加では4年、新投与経路では6年、オーファン・ドラッグでは10年）、その使用成績について調査を行った後、再度、有効性、安全性を確認します。

安全性定期報告とは、再審査期間中の半年または1年ごとに調査の結果（または途中経過）を集計・解析した資料のほか、国内外の安全性情報を含めて行政当局に報告します。また、再審査期間満了後には再審査申請資料として提出し、それらの調査結果を基に有効性・安全性などが再確認されます（再審査結果公示）。

●再評価制度

承認されている医薬品について最新の医学・薬学の学問的水準に照らして、安全性・有効性・品質を見直す制度です。再評価を受けるべき医薬品は厚生労働大臣の指定により行われ、医療用医薬品では現在、定期的再評価と臨時の再評価および品質の再評価が実施されています。消炎酵素剤の再評価結果通知が2016年3月に発出されたのを最後に、2022年時点での医療用医薬品の再評価指定はありません。

●副作用・感染症報告制度

製造販売後の副作用や感染症の発生を早い段階で把握し、その拡大を防止するため、医薬品によると疑われる副作用や感染症を継続的に収集するなどして行政当局へ報告する制度です。大きく以下の5つの制度からなっています。

- ・製薬企業（製造販売業者など）が行う企業報告制度
- ・生物由来製品（人や動物に由来するものを原料とする医薬品）における感染症定期報告制度
- ・医薬関係者から独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に副作用などを報告する医薬品・医療機器安全性情報報告制度
- ・世界保健機関（WHO）加盟国間で副作用等情報の情報交換を行うWHO国際医薬品モニタリング制度
- ・患者さんからの医薬品副作用報告制度

これらの情報は、厚生労働大臣が医学・薬学などの専門家で構成する薬事・食品衛生審議会の意見を聞いて判断・評価したうえで、その医薬品が適正に使用されるように、添付文書の「使用上の注意」の改訂などの形で医療機関に情報提供されます。

●市販直後調査

販売開始直後に実施される制度として「市販直後調査」があります。これはGVPに規定されているもので、新薬などの承認に際し、承認条件として付与されます。付与された新薬などはその販売開始から6ヵ月間、医療機関に対し確実な情報提供、注意喚起を行い、適正使用に関する理解を促します。さらに、重篤な副作用および感染症の情報を迅速に収集し、必要な安全対策を実施することにより、副作用などの被害を最小限に抑えます。

●医薬品リスク管理計画

(RMP : Risk Management Plan)

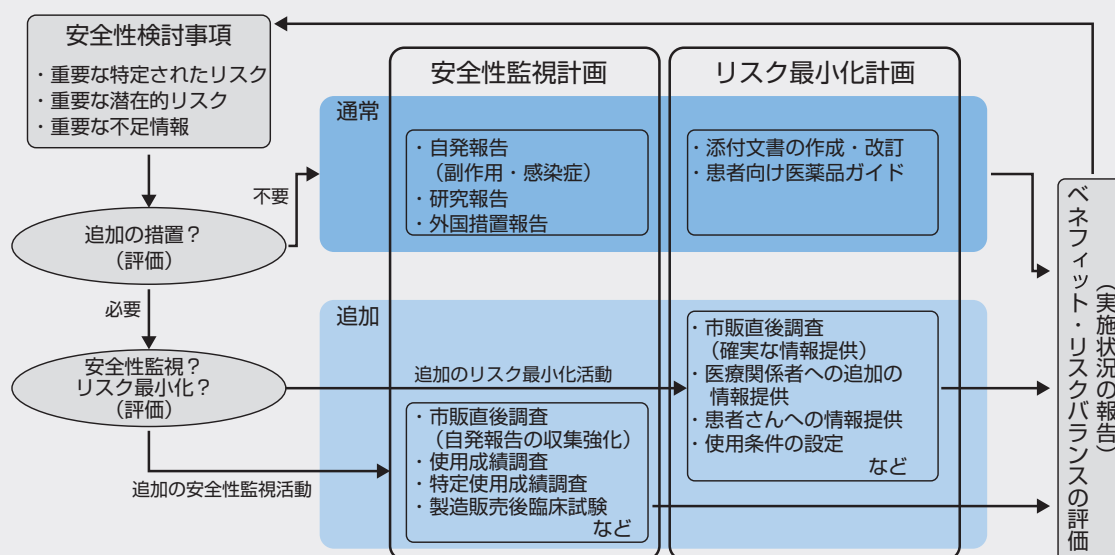
医薬品は、有効性ととともに一定のリスク（副作用）を伴うものであり、リスクをゼロにすることはできませんが、リスクを可能な限り低減するための方策を講じ、適切に管理していくことが重要です。これまでも、医薬品のリスクを最小化するために、必要な注意事項を添付文書に「使用上の注意」として記載するとともに、薬剤・疾患の特性に応じて適正使用ガイドや患者さん向けの資料を作成したり、施設・医師要件の設定や流通管理などを行ったりしてきました。また、使用実態下の情報収集のために、副作用報告制度、市販直後調査、使用成績調査などの活動が行われてきました。RMPは、これらの取り組みを医薬品ごとに文書化し、関係者で共有できるようにすることで、市販後安全対策

のいっそうの充実・強化を図ろうとするものです。

RMPは、基本的に3つの要素から構成されます。「安全性検討事項」「医薬品安全性監視計画」「リスク最小化計画」の3つで、得られた知見に基づいて「安全性検討事項」を特定し、それぞれの安全性検討事項について「医薬品安全性監視計画」および「リスク最小化計画」を策定し、必要に応じて安全性・有効性に関する調査・試験の計画を作成することが求められます。これらの計画の全体をまとめて文書化したものがRMPです(1-11)。RMPの作成により、医薬品のライフサイクルを通してリスクの評価と見直しが行われるようになりました。

RMPは、医療機関での利活用も進められています(1-12)。新薬採用時の情報源としてRMPを求める施設も多く、MRからのRMPおよびRMP資料の情報提供が求められています。

1-11 RMP全体のイメージ



1-12 RMPの利活用

○まずはざっとRMPの概要に目を通そう！

どんなリスクが想定され、どんな調査が行われているのか、どんな資料が作成されているのか把握しましょう。

○新薬の採用時などにRMPを確認しよう！

新薬など初めて扱う薬のリスク把握にRMPを活用しましょう。

○「重要な特定されたリスク」を患者さんのモニタリングに活用しよう！

特定されたリスクをモニタリング項目にするなど、効率よく副作用モニタリングができるよう活用しましょう。

○副作用の原因薬剤調査に潜在的リスクも検討しよう！

RMPには、まだ添付文書に載らないような潜在的リスクも掲載されています。原因薬剤の調査において、添付文書の中の副作用ではないと思ったらRMPを見てもひとつの手かも知れません。

○追加のリスク最小化活動の資料である「医療関係者向け資料」「患者向け資料」を活用しよう！

RMPに設定されているリスク最小化資料を活用しましょう。右記のRMPマークも参考にして下さい。PMDAホームページからも確認できます。

医薬品リスク管理計画
(RMP)

(4) 医療用医薬品情報（添付文書）の公表

厚生労働省は、PMDAのウェブサイトを通じて「医療用医薬品 情報検索」を開設しています（<https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>）。医療用医薬品情報（添付文書）は、本来医療関係者への情報提供を目的として作成されたものですが、ウェブサイトから誰でも医療用医薬品に関する情報を直接入手することができるようになりました。

従来、医療用医薬品情報を患者さんなどに提供することは、製品の広告に該当すると判断されること、医療用医薬品の添付文書は本来医療関係者向けに作成されているものであることから、これまで製薬企業は、医療用医薬品情報の一般公表を自粛してきました。

しかし、患者参加型医療を実現するためには、むしろ患者さん自身が医薬品に関する情報を十分に入手できる体制を整え、必要な知識を得たうえ

で受診できるようにすることも重要です。そこで、2002年12月、政府の総合規制改革会議は、患者さんなどが入手できる情報と医薬品などの広告規制に関して、製薬企業が自社のウェブサイトで医療用医薬品情報（添付文書）を一般に公表することは広告にあたらないこと、また、公表する内容は医薬品医療機器情報提供ホームページで公表されている添付文書の内容と同一であることという答申を行い、ただちに閣議決定され、医療用医薬品の添付文書の公表が行われることになりました。

現在では、医薬品医療機器等法の改正に伴い、医療用医薬品の添付文書は、PMDAのウェブサイトからの公表といった電子的な方法による情報提供が基本となりました。また、添付文書そのものに加えて、添付文書に関するわかりやすい説明書（患者向医薬品ガイド）も製薬企業と行政当局との共同作業で作成し、順次公表しています。

ドラッグ・リポジショニング

【背景】

「ドラッグ・リポジショニング」とは、既存薬の新しい効能を発見し、別の病気の治療薬として開発を行う手法を指します。既存薬ではヒトでの安全性や体内動態、製造方法などが確認されていますので、くすりを一から開発するよりも低リスク、低コストで、スピーディーな臨床応用が可能です。新薬の開発を促進する有効な手段として注目を集めています。

【事例】

これまで多くのくすりがドラッグ・リポジショニングで生まれています。たとえば、解熱鎮痛薬として開発されたアセチルサリチル酸には、後に抗血栓効果が認められたことから、脳梗塞や虚血性心疾患の再発予防薬（低用量アスピリン）が誕生した経緯があります。胃潰瘍治療薬レバミピドは粘膜修復作用が注目され、ドライアイの点眼薬としても製品化されました。また、抗インフルエンザ薬として合成されたメマンチンは、現在アルツハイマー型認知症治療に使用されています。ほかにも、狭心症治療用に開発が進められたシルデナフィルは勃起機能障害治療薬、高血圧治療用に開発されたミノキシジルは発毛剤として知られています。

【現状】

このように、ドラッグ・リポジショニングは比較的古くから行われていますが、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の世界的流行を機に、よりいっそう注目されるようになりました。COVID-19への適応に向けたドラッグ・リポジショニングの例としては、国内でも承認されたレムデシビル（既存の対象疾患、以下同：エボラ出血熱）、デキサメタゾン（重症感染症）、バリシチニブ（関節リウマチ）や、適応が研究されているファビピラビル（インフルエンザ）、シクレソニド（気管支喘息）、ナファモスタット（急性膵炎）などが挙げられます。

【展望】

以前は、ドラッグ・リポジショニングの成功例は、研究者の知識や経験に基づくセレンディピティ（幸運）に依存していることもありましたが、近年は、病気の原因とくすりの作用機序の解明などから、より効率的なドラッグ・リポジショニングが模索されています。

具体的には病気やくすり、遺伝子、タンパク質、代謝産物などに関する膨大な情報（医薬関連ビッグデータ）を人工知能（AI）で解析し、病気に対する最適なくすりを網羅的かつ体系的に検索し、実用化を目指す方法です。

このような現代版のドラッグ・リポジショニングを実現するためには、製薬企業が所有する既存薬データベースの共有・公開や、医薬関連ビッグデータの利用のための仕組み作りなどの必要性が指摘されています。