新薬が創る　ひろがる未来

てきすとぶっく　製薬産業 2022-2023

新薬の開発を通じて社会への貢献をめざす

日本製薬工業協会

Japan Pharmaceutical Manufacturers Association

はじめに

製薬産業は「くすり」を創り、提供することで人々の生命や健康の維持に携わってきました。新型コロナウイルス感染症によるパンデミックの甚大な影響により人々の日常生活に大きな変化が生じた現況において、製薬産業には、画期的な新薬の創出と全世界への供給、新たなパンデミックの予防、グローバルヘルスに向けた産学官一体の取り組みへのリーダーシップ発揮など、日本のみならず世界の成長・発展を牽引すべく大きな期待が寄せられています。

私たち製薬産業は、それらの期待に応えるため、先進的な創薬を常に追究し、創薬におけるイノベーションの実現を目指して新薬の開発に取り組むことで科学技術の発展にも寄与しています。また、その活動により生み出された新薬は、患者さんに新たな希望となる治療法を提供するのみならず、そのご家族も含めた QOL（生活の質）の向上や、働き手の増加をもたらすことなどにもつながり、社会全体における健康寿命の延伸や経済成長にも貢献しています。

このような新薬をはじめとするくすり（医薬品）には、優れた有効性とともに高い安全性が確保されていることが求められます。厳格な法規制のもとで基礎研究、非臨床試験、臨床試験（治験）を実施し、承認申請・審査・承認というプロセスを経て、はじめて患者さんの元に医薬品は届けられます。私たち製薬産業は人々の健康と生命に関わっているという矜持を常に持ち、高い透明性と法令遵守の意識を心掛けながら、日々の活動を推進してまいります。

◆

日本製薬工業協会は、研究開発志向型の製薬企業が加盟する任意団体です。「日本および世界の人々の健康と福祉の向上に貢献する」ため、さまざまな活動を展開しています。本書「てきすとぶっく製薬産業」はその活動の一環として、製薬産業についてご理解いただくためのコンテンツとして 1998 年以来刊行してまいりました。

この度、「てきすとぶっく製薬産業 2022-2023」を編集するにあたり、製薬産業の現状や直面する課題などの客観的な事実に即して、できるだけわかりやすく解説するように努めました。また、関連する法令や規制の改定にあわせて、可能な限り新しいデータや情報を採用しています。さらに、コラム記事として製薬産業で注目されているキーワードを紹介することで、最近のトピックも含めて製薬産業全体について体系的に理解していただける内容と構成にしています。

本書は、書名に「てきすとぶっく」とあるように、製薬産業について理解するための入門書であると同時に、製薬産業に関する平易な専門書としての用途も併せ持っています。常に身近な場所に置いて日常的に活用していただければ幸いです。

2022 年 11 月
日本製薬工業協会　広報委員会

CONTENTS てきすとぶっく 製薬産業 2022 −2023

Ⅰ 医薬品

1. 医薬品とはなにか ……2
（1）医薬品の定義と製造販売承認制度 …… 2
（2）医薬品の分類 …… 3
＜コラム＞ 一般名と製品名 …… 3
（3）医療用医薬品の品目数 …… 4
＜コラム＞ くすりの知識 …… 4
（4）医薬品の適正使用 …… 5
（5）医薬品医療機器等法に基づく規制の仕組み …… 5
＜コラム＞ 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）への取り組み …… 6

2. 創薬（新薬の研究開発と承認）……7
（1）新薬の研究開発と動向 …… 7
（2）治験環境の変化 …… 8
（3）承認申請と国際規制調和の動向 …… 10
（4）再審査期間とジェネリック医薬品 …… 10
＜コラム＞ 医薬品に関する規制 …… 11
（5）医薬品開発と知的財産 …… 12
＜コラム＞ 医薬品におけるジェネリック医薬品の国内シェア …… 14
＜コラム＞ 新薬・未承認薬等研究開発支援センター … 15

3. 育薬（医薬品情報の収集・提供）…… 16
（1）医薬情報担当者（MR）による情報の収集・提供・伝達 …… 16
（2）ファーマコビジランス（PV） …… 17
（3）医薬品副作用被害救済制度 …… 19
（4）医療用医薬品情報（添付文書）の公表 …… 20
＜コラム＞ ドラッグ・リポジショニング …… 20

Ⅱ 医療制度

1. 医療保険制度 …… 21
（1）日本の医療保険制度 …… 22
（2）国民医療費 …… 24
（3）薬剤費比率 …… 25
（4）医療保険制度改革の動き …… 25
（5）医療保険外の医療 …… 25
＜コラム＞ 医療・介護の総合的な確保 …… 27
＜コラム＞ 医療提供体制 …… 28
＜コラム＞ 医薬分業 …… 29
＜コラム＞ 緊急承認制度 …… 30

2. 薬価制度 …… 31
（1）薬価基準 …… 33
（2）薬価改定 …… 33
＜コラム＞ 市場実勢価格加重平均値調整幅方式によらない薬価改定 …… 33
（3）新薬の薬価算定 …… 34
＜コラム＞ 先駆的医薬品等指定制度（先駆け審査指定制度）…… 36
（4）2022 年薬価改定などの議論を踏まえた今後の課題 …… 37
＜コラム＞ 新薬創出・適応外薬解消等促進加算 …… 37
＜コラム＞ 長期収載品の薬価等の見直しについて … 40

Ⅲ 製薬産業

1. 製薬産業の貢献と挑戦 …… 41
（1）コンプライアンスに関する取り組み …… 41
（2）医薬品の多様な価値 …… 42
（3）医薬品の進歩 …… 43
＜コラム＞ 医薬品の流通 …… 43
＜コラム＞ オーファン・ドラッグ …… 45
＜コラム＞ プレシジョン・メディシン …… 45
（4）国際貢献 / グローバルヘルス …… 46
＜コラム＞ 薬剤耐性（AMR）…… 47
（5）患者参加型医療 …… 47
＜コラム＞ 研究への患者・市民参画（PPI）…… 48

2. 日本の製薬産業の概況 …… 49
（1）製薬産業の現状 …… 49
（2）医薬品の生産額、市場規模 …… 50
（3）研究開発費 …… 51
＜コラム＞ プログラム医療機器（SaMD） …… 51
＜コラム＞ 抗体医薬 …… 52
＜コラム＞ 核酸医薬 …… 52
（4）製薬産業の将来展望 …… 53
＜コラム＞ 日本の製薬産業の環境対策 …… 53

3. 世界の製薬産業 …… 55
（1）世界の製薬産業を取り巻く環境 …… 55
（2）世界の医療用医薬品市場 …… 56
（3）欧米製薬企業との差異 …… 58
（4）アジア地域の市場拡大 …… 59
＜コラム＞ mRNA ワクチン …… 60

Ⅳ 参考

1. 用語解説 …… 61
2. 製薬協からの情報発信（ウェブサイト）…… 63
3. SNS 公式アカウント …… 64
4. 製薬協の主な刊行物 …… 64
5. 主要な業界団体および関連機関・団体名 …… 65

※本文中で＊が付いている語句は、巻末(61 ページ〜)に用語解説があります

I 医薬品

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）〕で「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されたものをいう。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

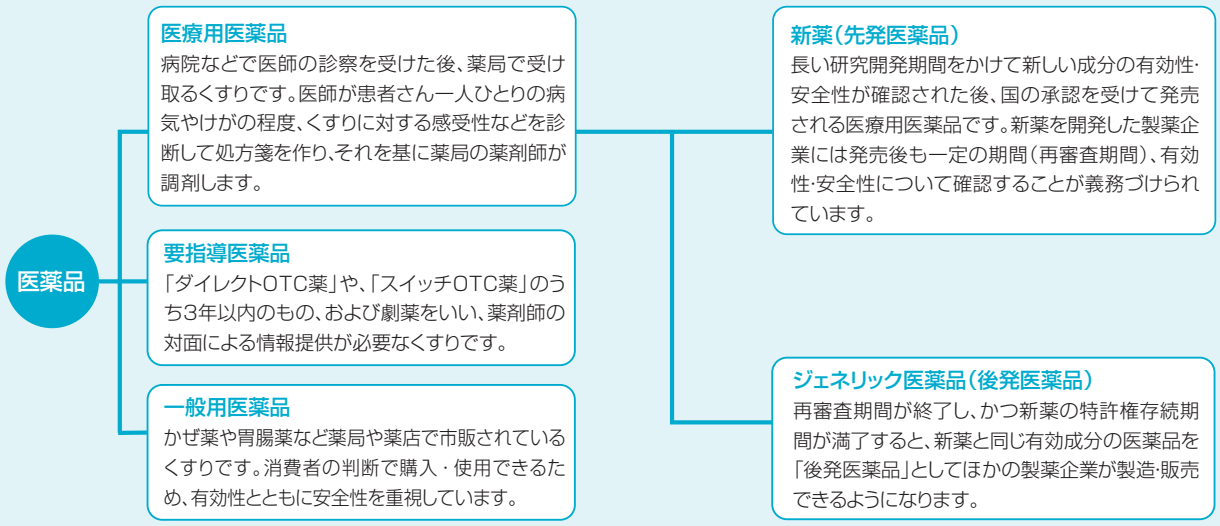
医薬品は、「医療用医薬品」と OTC 医薬品（Over The Counter Drug）と呼ばれる「要指導医薬品」および「一般用医薬品」に分けられます（**1-1**）。

「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「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。

一方、「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。

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**）。品目数が多くなる理由は、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
2022	7,934	3,615	2,107	26	13,682

注：2022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がらず、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、薬価基準に収載されているのは、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、薬価基準には収載されていません。

（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、患者さんの症状にかな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。

最近の大きな改正としては次のようなものがあります。

●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（2022 年 12 月 1 日施行予定）。

●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（2023年2月1日までの間に施行予定）。

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）への取り組み

2019年12月、中国湖北省武漢市で原因不明の肺炎が発生したことを端緒に、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）が始まりました。感染は瞬く間に世界的に拡大し、2020年1月に世界保健機関（WHO）が原因を新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）と確認した後、2020年4月には世界の感染者数が100万人を突破、死亡者数も3万人を超えるほどの勢いでした。2022年8月時点で感染者数は6億人、死亡者数は648万人を超えています。

治療薬もワクチンもまったくない感染症に対し、医学・薬学の研究者、医療関係者、製薬企業は迅速に対応しました。治療薬の開発でまず成果が見えてきたのは、「ドラッグ・リポジショニング」の手法によるものでした。ドラッグ・リポジショニングとは、従来から知られている医薬品を別の疾患の治療薬として活用することです。

この手法を使って、2020年4月には、エボラ出血熱治療薬レムデシビルがCOVID-19患者に有効だと医学雑誌に報告されました。各国の規制当局の行動は素早く、2020年5月には米食品医薬品局（FDA）がレムデシビルの緊急使用を認め、日本の厚生労働省も初のCOVID-19治療薬として特例承認しました。日本で承認されたCOVID-19治療薬はほかに、ステロイド薬デキサメタゾン、関節リウマチなどの治療薬バリシチニブ、トシリズマブなどがあります。

マラリアなどの治療薬ヒドロキシクロロキンも治療薬として期待され、FDAが緊急使用を認め臨床試験も進められました。当時の米国大統領であったドナルド・トランプ氏が高く評価し、自身も服用したことでも注目されましたが、治療効果は認められないとして、その後に使用許可が取り消されました。このように、有望なデータが報告されたものの、その後の臨床試験などで否定されたケースは少なくありません。

ワクチンの開発では、2020年1月には米国立衛生研究所（NIH）がワクチン開発の着手を宣言、それに続いて多くの製薬企業も名乗りを上げ、パンデミック初期から開発競争が始まりました。米国では、2020年11月にファイザー製の緊急使用が許可され、ワクチン接種が始まりました。その後、2020年末までにイギリス、EU、イスラエルなどでもワクチン接種が開始され、日本では2021年2月に特例承認され、接種が開始されました。その後の2021年5月にはモデルナ製、アストラゼネカ製が特例承認され、ワクチン接種の輪が広がっていきました。

ファイザー製とモデルナ製のワクチンは、メッセンジャーRNA（mRNA）ワクチンという新しいタイプであることが注目されました。抗原となるスパイクタンパク質の遺伝情報であるmRNAをヒトに注射し、体内でスパイクタンパク質を作り出し免疫を獲得させるという手法で、臨床への応用は初めてです。このため、副反応の面が指摘されましたが、重大な懸念は認められませんでした。

新規成分によるCOVID-19治療薬の開発も進み、次々と承認を取得しています。パンデミックの終焉が見えない中で軽症患者への早期治療が課題とされ、それに応えるように登場した抗体カクテル療法カシリビマブ／イムデビマブは、日本では初の軽症患者の治療薬として2021年7月に厚生労働省が特例承認しました。また、同じ軽症患者に適応があり、さらに経口投与できるモルヌピラビルも2021年12月に特例承認されました。

ワクチンやCOVID-19治療薬の開発では欧米のメーカーが一歩リードしていますが、国内メーカーも追い上げています。日本政府は、国産ワクチンの必要性の声を受け、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）に「先進的研究開発戦略センター（SCARDA）」を設置、国産ワクチンの開発を強力に推進していくことにしています。承認された製品はまだありませんが（2022年10月時点）、近い将来、臨床への登場が期待されています。

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は、世界各国で研究が進められていますが、日本ではまだ承認されていません（2022年10月現在）。

(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。

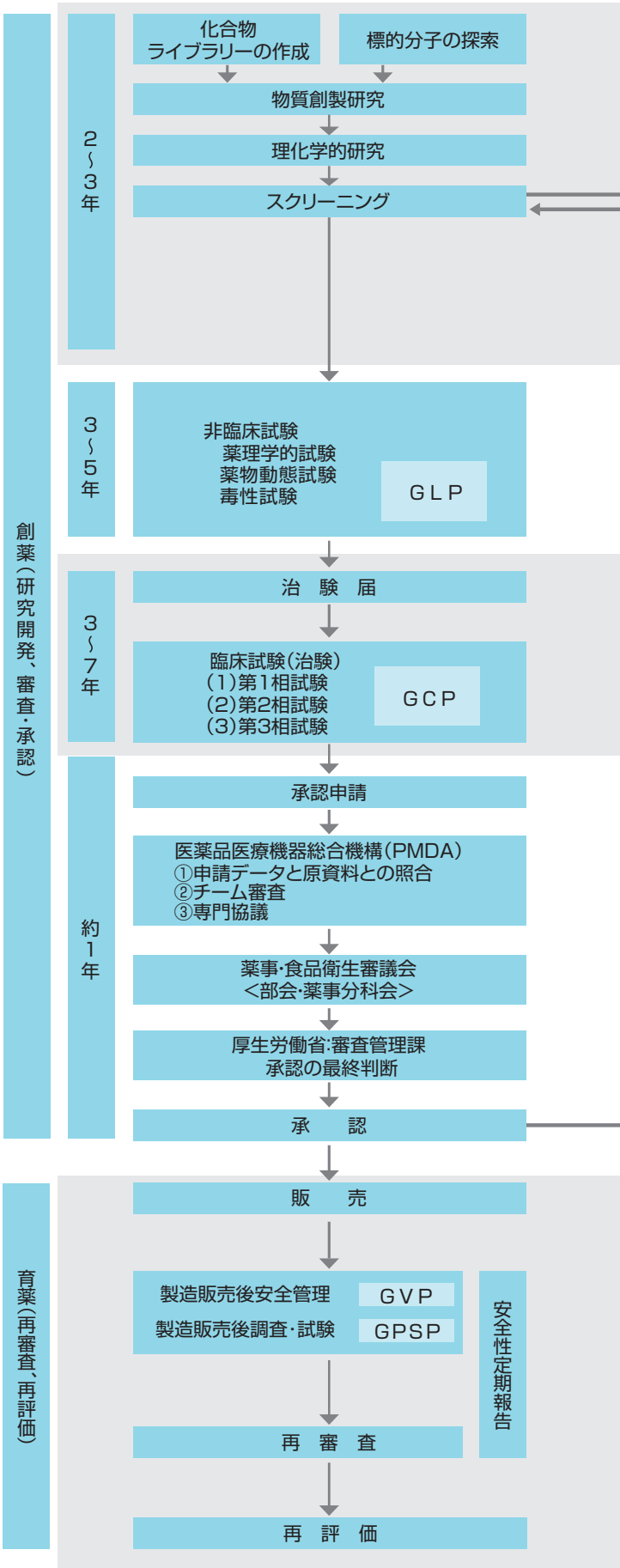
このような状況の中、適正かつ円滑な治験をサポートするため、治験に関わる業務の一部を受託する機関の役割が重要となります。これには、CROとSMOの2種類があります。

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で、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。

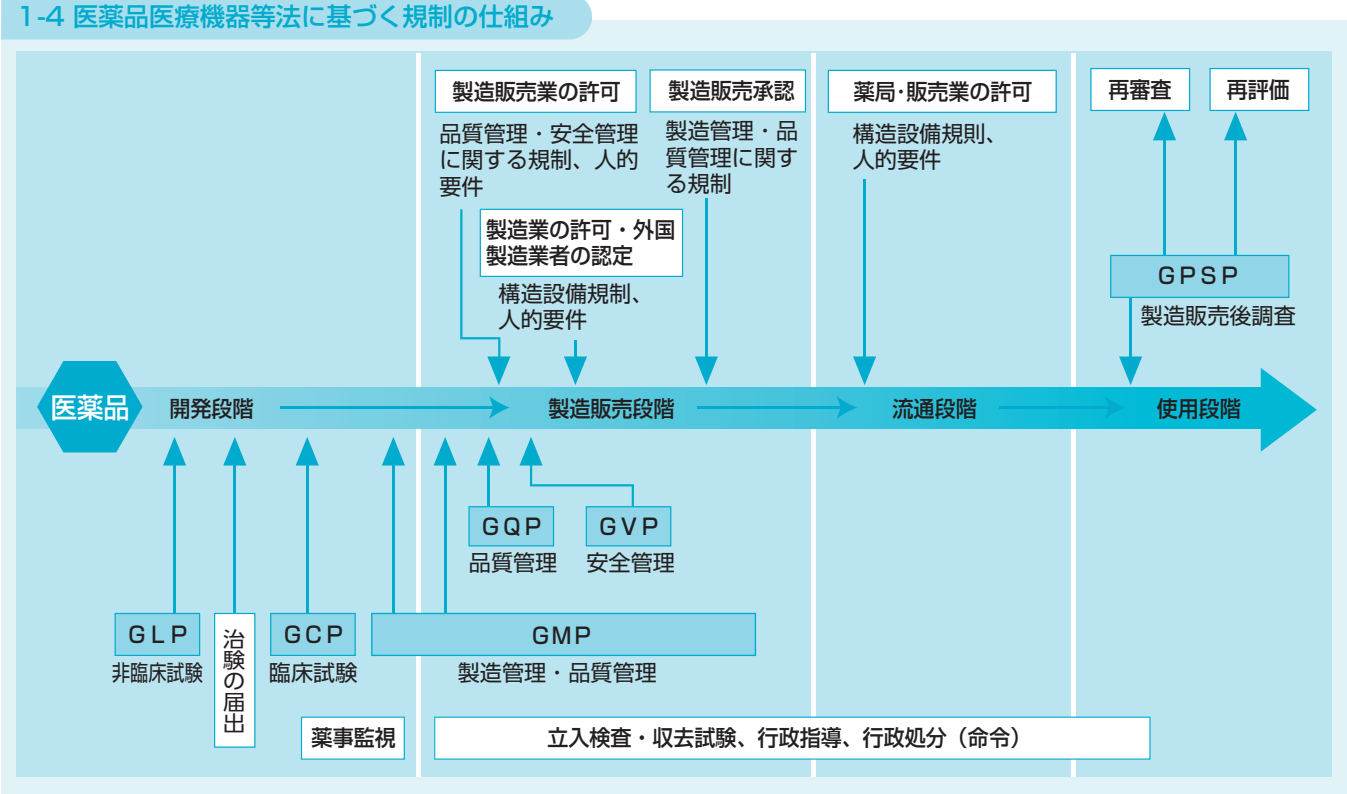
医薬品規制調和国際会議*（ICH）は、日米欧の規制当局（日本では厚生労働省/PMDA）による新薬承認審査基準の国際的な統一を図るため、1990年に会議体として発足し、医薬品の承認に際して必要な品質・有効性・安全性に関わるデータ収集などのガイドラインの作成、および承認申請提出書類の書式などの標準化を進めてきました。しかし、医薬品のグローバルでの開発や患者さんへの提供をさらに促進するため、スイス法人格を有する協会組織に改変し、日米欧の3極以外の地域の規制当局や、グローバルの業界代表も加わることとなりました。2015年12月に「第1回医薬品規制調和国際会議」が開催され、新たなICHがスタートしています。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、2022年6月現在でICH会員は20団体、ICHオブザーバーは35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・販売する際には、厚生労働省による製造販売承認を取得することが必要です。このとき、先発医薬品と有

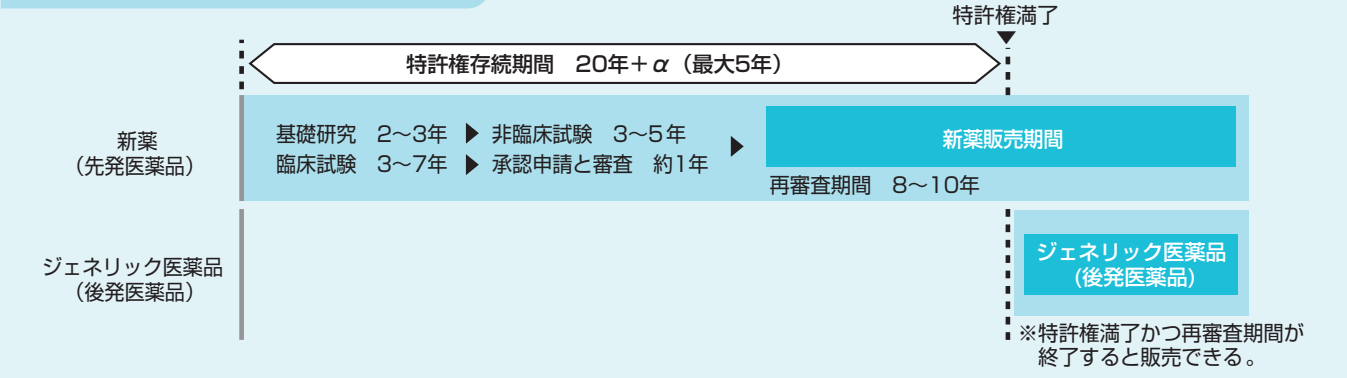
1-4 医薬品医療機器等法に基づく規制の仕組み



●出典：一般社団法人 レギュラトリーサイエンス学会監修：医薬品製造販売指針 2022, P10, じほう, 2022を一部改変

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、新薬発売の成功確率は21,963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、2020年には約1,650億円にものぼっています（**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、いかに早く特許出願をするかが、将来の事業化の

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（2016～2020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	505,141	―	―
前臨床試験開始	173	1：2,920	1：2,920
国内臨床試験開始	52	1：3.33	1：9,714
承認取得（自社）	23	1：2.26	1：21,963

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。
2：自社品(導入品は除外)に限り、剤形追加、効能追加は除外。
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	2016	2017	2018	2019	2020	合計
合成化合物数	123,218	105,642	89,949	92,298	94,034	505,141
前臨床試験開始数	29	21	46	26	51	173
国内臨床試験開始数	11	12	7	7	15	52
承認取得数（自社）	6	3	7	4	3	23
集計会社数	22社	21社	22社	20社	21社	

Ⅱ. バイオ医薬品

項目	2016		2017		2018		2019		2020	
	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	10	6	14	16	9	21	12	8	15	14
国内臨床試験開始数	3	0	4	1	5	2	6	2	1	7
承認取得数（自社）	0	0	0	0	3	0	4	2	0	2
集計会社数	22社		21社		22社		20社		21社	

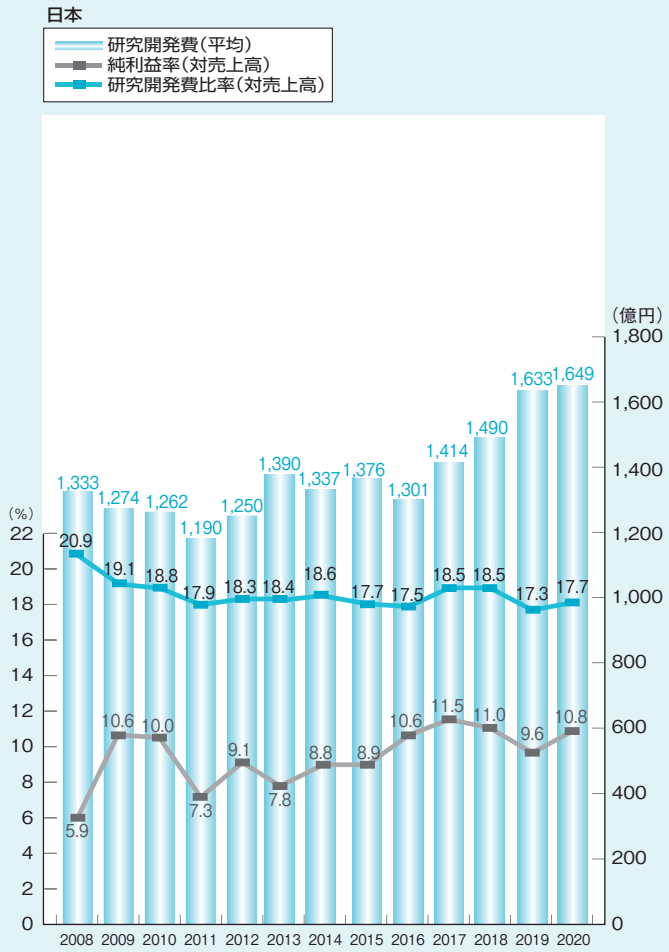
注：「それ以外」は、核酸医薬、ペプチド医薬、細胞治療、遺伝子治療などを指す。
●出所：日本製薬工業協会調べ(研究開発委員会メンバーのうち内資系企業の集計)
●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2022「A-7-9. 開発段階別化合物数と承認取得数(日本)- その1」

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、医療安全の面からも誤認や誤用を防ぐことも可能です（**1-8**）。

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

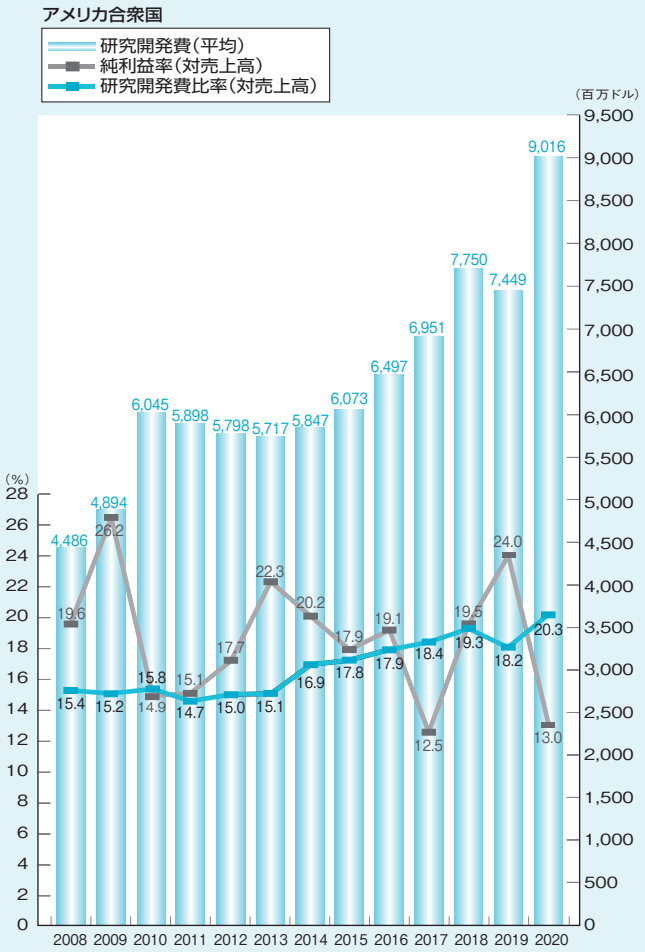


注：対象会社

2008～　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 2022「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

2008　Abbott、Amgen、Bristol-Myers Squibb、Eli Lilly、Johnson & Johnson、Merck、Pfizer、Schering-Plough、Wyeth

2009～13　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）

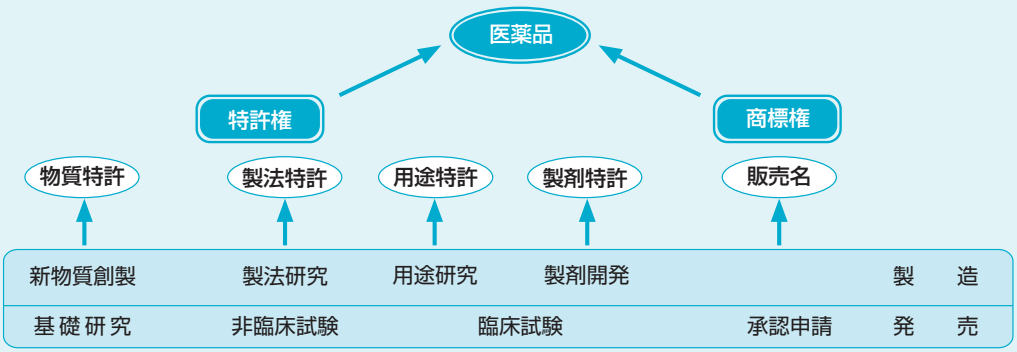
2014～　AbbVie、Amgen、Bristol-Myers Squibb、Eli Lilly、Johnson & Johnson、Merck、Pfizer
（AbbottはAbbVieとAbbottに分社、AbbVieのみ集計）

●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 2022「A-7-5. 製薬企業の研究開発費と利益率の推移（米国）」

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



医薬品におけるジェネリック医薬品の国内シェア

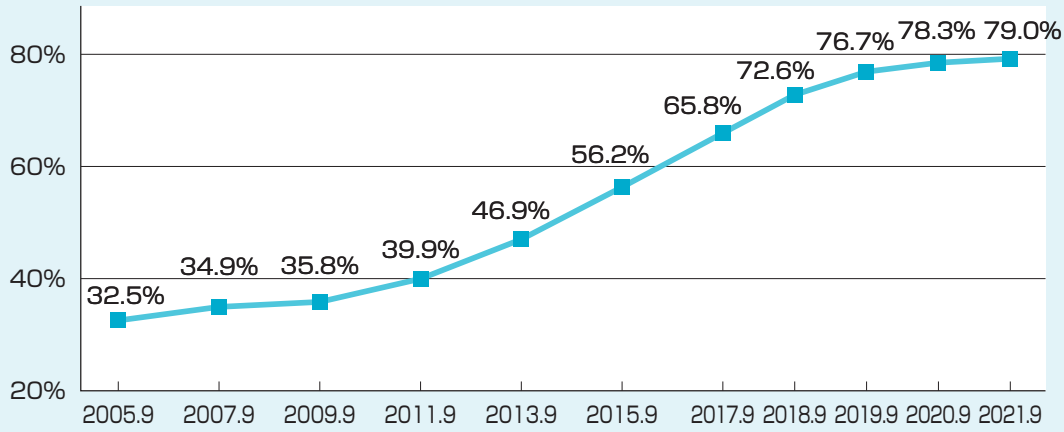
ジェネリック医薬品（後発医薬品）とは、特許期間が満了した医薬品であり、新薬（先発医薬品）と同じ有効成分の医薬品を、他の製薬企業が製造･販売するものです。一般的に臨床試験などの開発費負担がないため、新薬に比べて薬価は安くなります。

医薬品全体におけるジェネリック医薬品の国内シェアは、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。結果として2020年度9月末では78%台と、わずかに目標には届かなかったものの、ほぼ目標水準を達成しています。一方、使用割合においては、都道府県の地域差や保険者による差が課題とされています。またジェネリック医薬品の急速な使用拡大により、メーカーによる安定供給への不安や品質問題も指摘されており、ジェネリック医薬品の信頼回復に向けた取り組みにも世間の注目が集まっています。

政府は、2021年6月の閣議決定において、「後発医薬品の品質及び安定供給の信頼性確保を図りつつ、2023年度末までに全ての都道府県で80%以上」とする新たな目標を定め、ジェネリック医薬品の使用促進に取り組んでいます。

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）の使用促進について」参考資料1 使用割合の目標と推移

新薬・未承認薬等研究開発支援センター

海外で承認され使用されている医薬品でありながら、日本では承認されていない未承認薬の問題を解決するために、製薬協は 2009 年 5 月、会員会社によって「一般社団法人未承認薬等開発支援センター（PDSC）」を設立しました。未承認薬などの開発・提供に取り組む企業に対して、その研究開発、承認取得などに対する専門的・薬事的・技術的な支援や資金的援助を行い、当該企業の負担やリスクの分散・軽減を図るとともに、国内の患者さんに有効で安全な医薬品を速やかに提供することを目的としています。

開発プロセスにおいては、非臨床試験・治験費用や承認申請費用など承認取得までに要する費用に対する一部資金援助のほか、開発戦略などのノウハウ提供、承認申請時や薬価取得時に必要な助言などを行っています。

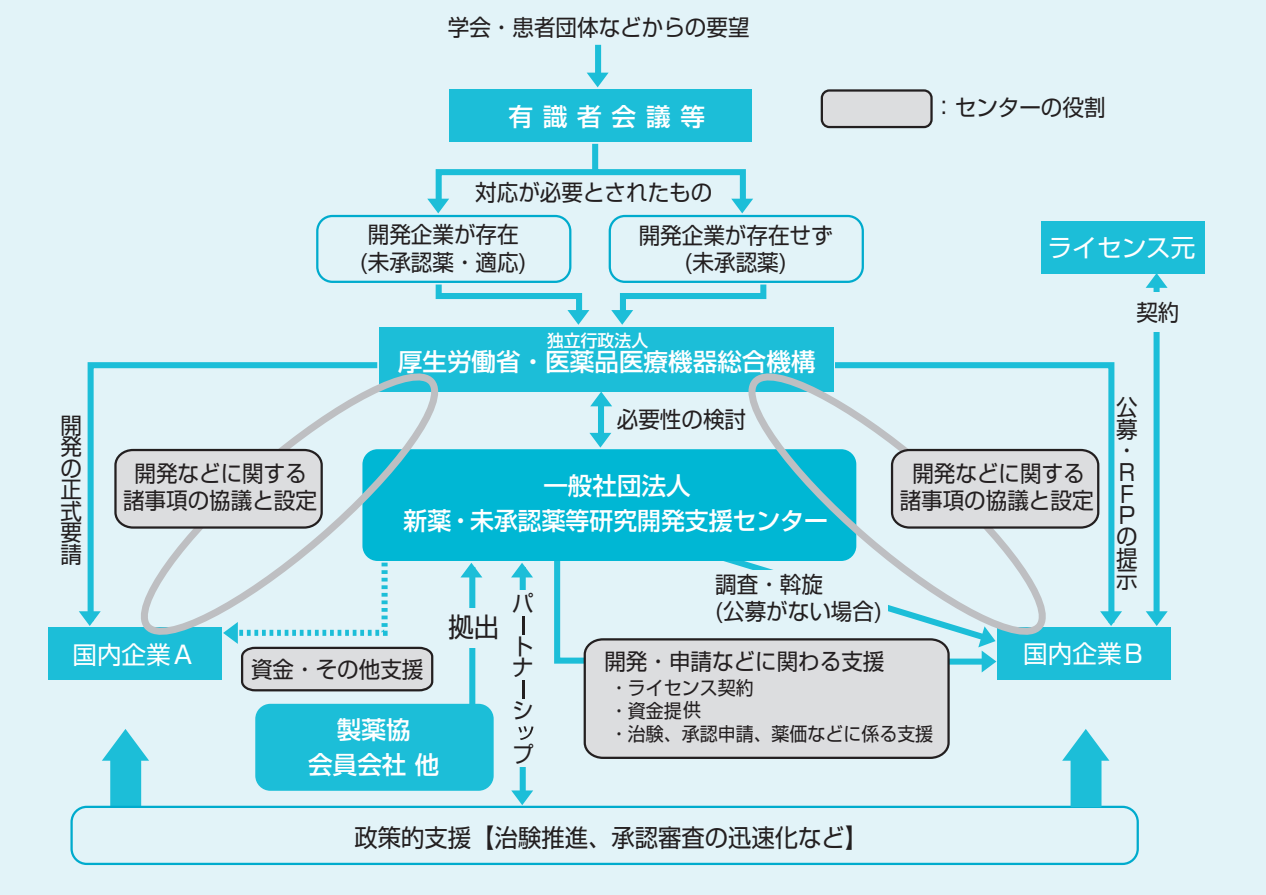
また、センター設立と同時期に厚生労働省が設置した総額 1,300 億円余におよぶ「平成 21 年度未承認薬・新型インフルエンザワクチン等対策基金」の管理団体としての活動も行っています。この基金は、①未承認薬開発支援、②未承認薬等審査迅速化、③新型インフルエンザワクチン開発・生産体制強化の 3 事業からなるもので、特に未承認薬などの開発支援については、センターの目的とする開発支援事業と表裏一体となって進められるものとなっています（**1-10**）。

センター設立以降、未承認薬・適応外薬問題はその解消に向けて大きく進展し、社会一般の認識も高まってきました。創薬を取り巻く環境が変化していく中で、センターは、新たな業務にも取り組んでいます。

創薬標的の複雑化、科学技術の高度化・多様化、研究開発コストの高騰などにより、産学連携、産産連携などオープンイノベーションの重要性が高まる中で、業界の主導による連携プロジェクトを円滑に進めるため、2020 年 5 月から、センターの名称を「新薬・未承認薬等研究開発支援センター」に改めるとともに、連携プロジェクトの企画立案や進行管理、政府やアカデミアとの調整、企業が拠出するアセットや連携プロジェクトの成果の管理などを行う業務を開始しました。

また、2020 年7月には、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）をはじめとした予期せぬ感染症の流行阻止・重症化予防に必要なワクチンを供給するため生産体制を整備することを目的として設けられた「ワクチン生産体制等緊急整備基金」（1,377 億円）の管理団体に指定され、活動を開始しています。

1-10 新薬・未承認薬等研究開発支援センターによる対応スキームの概要



●出典：厚生労働省「中央社会保険医療協議会薬価専門部会（2009 年 6 月 3 日）」を基に日本製薬工業協会にて作成

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、2021 年の第 28 回試験までに延べ 165,655 人が受験し、合格者数は 131,611 人で、合格率は 79.4％となっています。また、「2021 年版 MR 白書 − MR の実態および教育研修の変動調査 −」によると、2020 年に 53,586 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、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。

2022年9月現在、GVPは2017年11月、GPSPは2018年4月の改正が最新となっています。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。

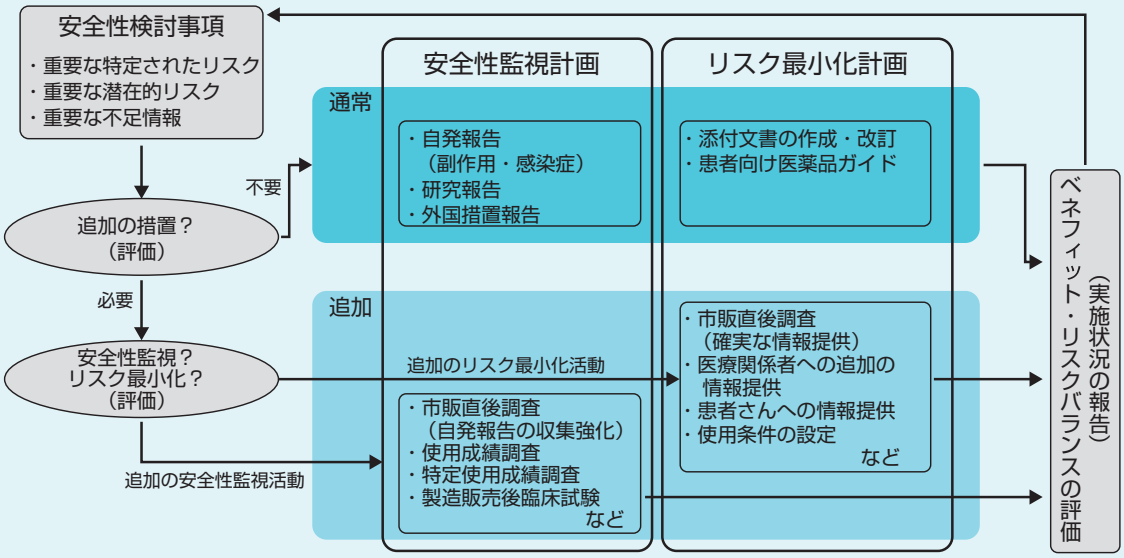
●医薬品リスク管理計画
（RMP：Risk Management Plan）

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材を作成したり、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 資材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、どんな資材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を見てみるの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材である「医療関係者向け資材」「患者向け資材」を活用しよう！
RMPに設定されているリスク最小化資材を活用しましょう。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るようになりました。

医薬品リスク管理計画
（RMP）

●出典：独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 RMP 解説資料「3 分でわかる！ RMP 講座」

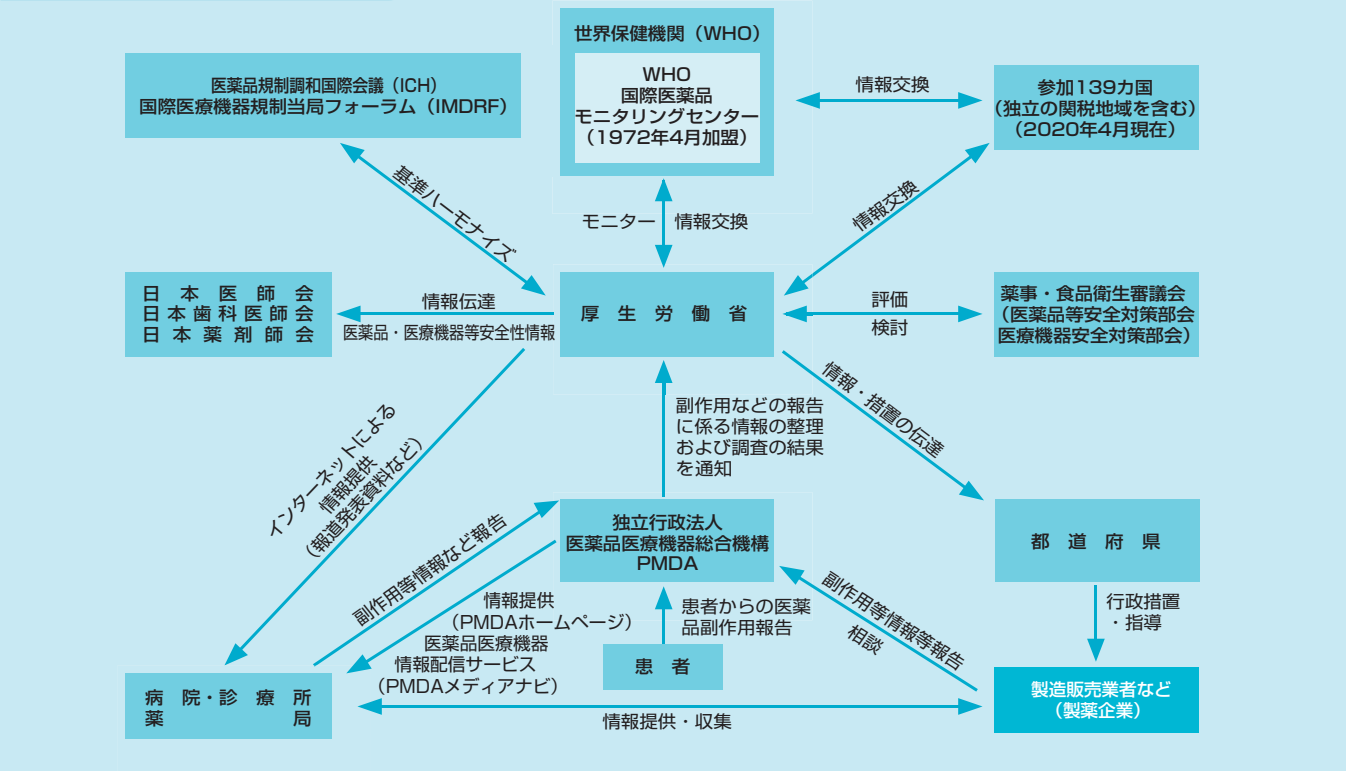
(3) 医薬品副作用被害救済制度

医薬品は、疾病の治療手段として欠くことのできないものですが、予期しない副作用を完全に防ぐことはできません。医薬品副作用被害救済制度は、医薬品を適正な目的のために正しく使用したにもかかわらず、深刻な健康被害が生じた患者さんに対して迅速な被害救済を図ることを目的としています。生物由来製品により生じた感染被害についても、「生物由来製品感染等被害救済制度」により救済給付が行われます（**1-13**）。

救済給付の実務は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が行っているもので、製薬企業などからの拠出金で運営され、被害者に医療費・障害年金などが給付されます（**1-14**）。この制度は、民事的責任＝損害賠償責任とは独立して別途、その現実的救済を行うものです。

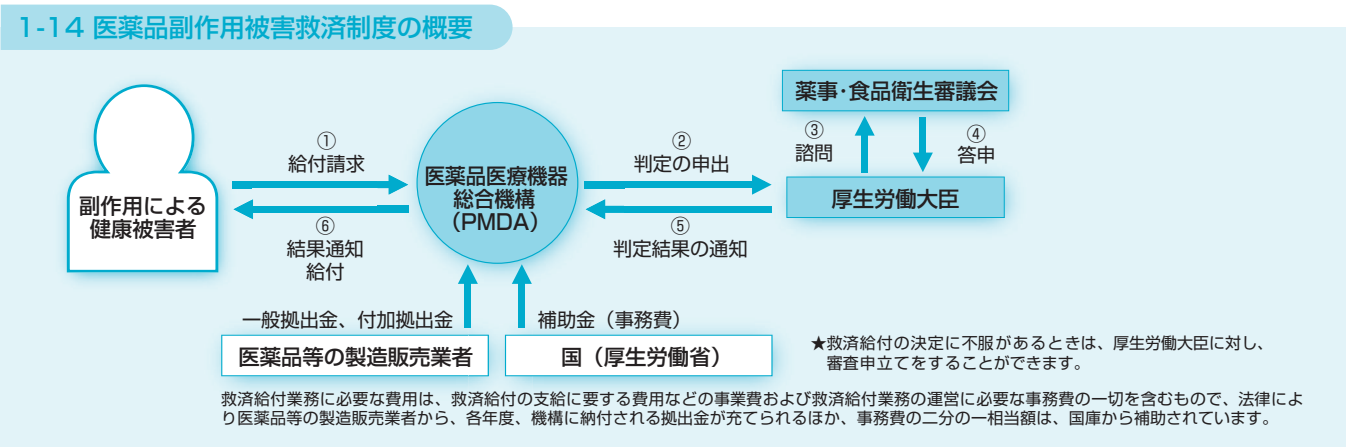
また、製造物責任法（PL 法）により、製造業者の過失の有無を問わず、製造物の「欠陥」により被害が生じた場合には、被害者（法人を含む）が保護されます。PL 法では、医薬品の副作用により生じた健康被害の救済を民事責任に基づいて行うことを目的としており、この点が医薬品副作用被害救済制度と異なります。

1-13 副作用等報告制度の概要



●出典：厚生労働省「令和３年版厚生労働白書」資料編：保険医療

1-14 医薬品副作用被害救済制度の概要



●出典：独立行政法人 医薬品医療機器総合機構「医薬品副作用被害救済制度に関する業務」

（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。

Ⅱ 医療制度

1. 医療保険制度

日本の医療保険制度は、「国民皆保険」「現物給付」「フリーアクセス」といった特徴を持ち、誰もが安心して医療サービスを受けることができ、世界最長の平均余命の達成にも大きな役割を果たしてきました（2-1）。

一方、医療保険財政は高齢化の急速な進展に伴う老人医療費の増大や、国民所得の伸びを上回る国民医療費*の増加などにより、極めて厳しくなることが懸念されています。

2021 年の人口構成に占める高齢者の比率（総人口に占める 65 歳以上人口の割合）は 29.1％の 3,627 万人となり、前年に比べ 22 万人増加し、過去最多となりました。2040 年には 35.3％とさらに高齢化が進むことが見込まれ、医療保険制度を取り巻く環境は今後も大きく変化することが予想されます〔総務省統計局「高齢者の人口」(2022 年 9 月 15 日現在推計)〕。

こうした中、医療保険制度の安定的運営を図るための国民健康保険法などの一部改正や、高齢者医療制度改革が検討・推進されるなど、今後とも医療保険制度を堅持していくことを基本に、人口構造の変化に対応できる持続可能なシステムを構築するための取り組みが進められています。

2-1 平均余命の国別比較（2019）

（単位：歳）

国名	平均	男	女
日本	84.3	81.5	86.9
スイス	83.4	81.8	85.1
韓国	83.3	80.3	86.1
シンガポール	83.2	81.0	85.5
スペイン	83.2	80.7	85.7
キプロス	83.1	81.1	85.1
オーストラリア	83.0	81.3	84.8
イタリア	83.0	80.9	84.9
イスラエル	82.6	80.8	84.4
ノルウェー	82.6	81.1	84.1
フランス	82.5	79.8	85.1
ルクセンブルク	82.4	80.6	84.2
スウェーデン	82.4	80.8	84.0
アイスランド	82.3	80.8	83.9
カナダ	82.2	80.4	84.1
ニュージーランド	82.0	80.4	83.5
マルタ	81.9	79.9	83.8
アイルランド	81.8	80.2	83.5
オランダ	81.8	80.4	83.1
ドイツ	81.7	78.7	84.8
オーストリア	81.6	79.4	83.8
フィンランド	81.6	79.2	84.0
ポルトガル	81.6	78.6	84.4
ベルギー	81.4	79.3	83.5
イギリス	81.4	79.8	83.0
デンマーク	81.3	79.6	83.0
スロベニア	81.3	78.6	84.1
ギリシャ	81.1	78.6	83.6
クウェート	81.0	79.3	83.9
コスタリカ	80.8	78.3	83.4
チリ	80.7	78.1	83.2
ペルー	79.9	78.5	81.3
モルディブ	79.6	78.6	80.8
コロンビア	79.3	76.7	81.9
パナマ	79.3	76.6	82.1
チェコ	79.1	76.3	81.9
エストニア	78.9	74.7	82.6
クロアチア	78.6	75.5	81.6
トルコ	78.6	76.4	80.7
アメリカ合衆国	78.5	76.3	80.7

●出典：WHO 世界保健統計 2022 年版

（1）日本の医療保険制度

①医療保険制度の概要

日本では、国民から徴収された保険料などによって運営される医療保険制度が採用されています（2-2）。1961年、全ての国民を対象とする現在の制度である「国民皆保険制度」の実現により、国民の誰もが、いつでもどこでも医療サービスを容易に受けられるようになりました。このように、いつでもどこの医療機関でも医療サービスが受けられることを「フリーアクセス」と呼びます。

被保険者（患者）が医療サービスを受けた場合、被保険者は診療費用の一部を保険医療機関（病院、診療所、保険薬局*など）の窓口で支払い、残りは保険者（健康保険組合など）から保険医療機関に支払われる仕組みになっています。

保険医療機関は、初診料・投薬料・手術料など診療行為別に定められた診療報酬点数表に基づいて診療費用を計算し、診療報酬明細書（レセプト）によって審査支払機関（国民健康保険団体連合会など）に請求します。審査支払機関は、正しい請求が行われているかレセプトをチェックしたうえで、診療報酬を保険医療機関に支払います。このとき医薬品の代金は、薬価基準価格で償還されます。

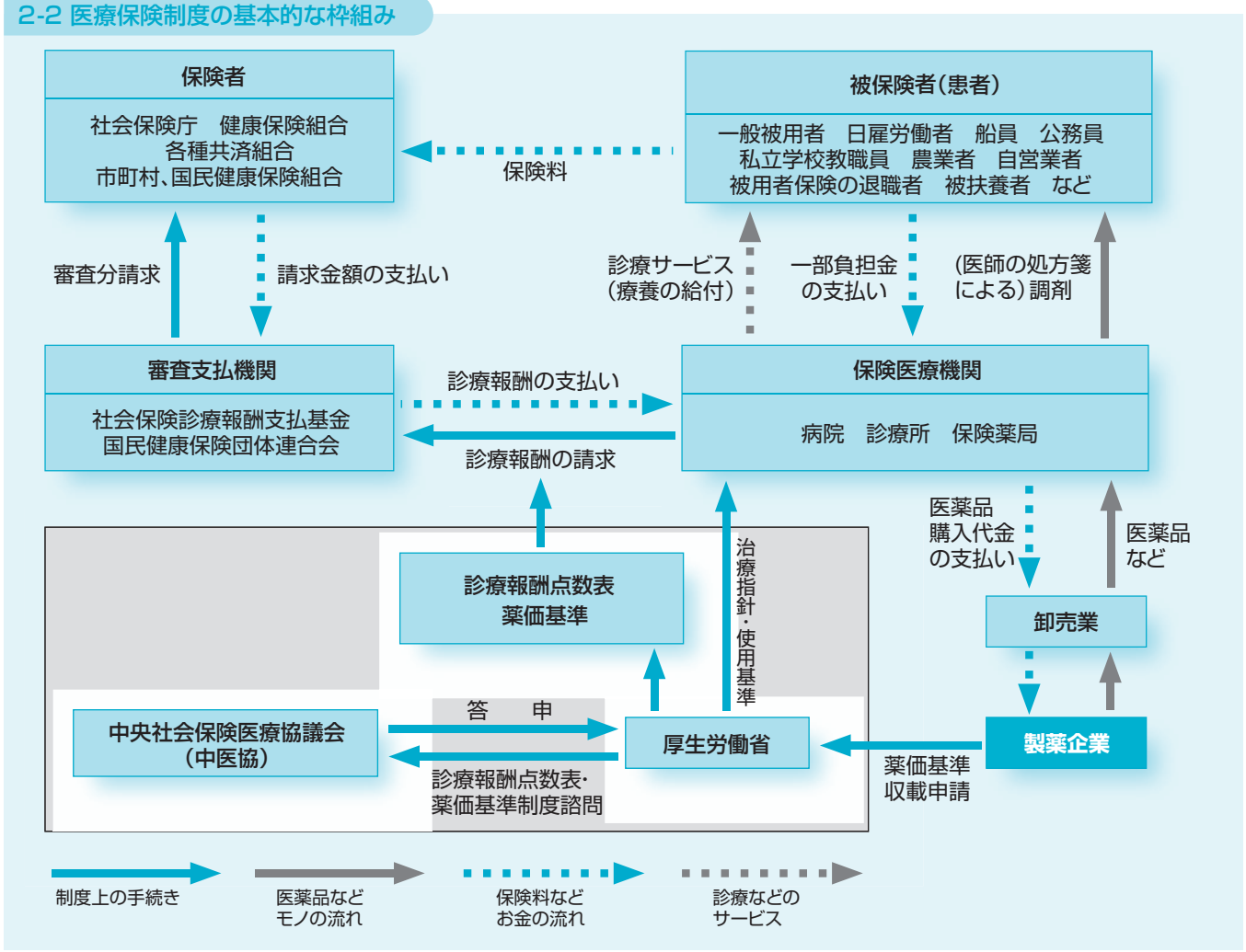
こうした「出来高払い制度」のもとでの「現物給付」（診療・検査・投薬などの医療サービスとしての給付）は、日本の医療保険制度の大きな特徴のひとつです（2-3）。

②「出来高払い制度」と「定額払い制度」

日本の医療保険制度の特徴のひとつである「出来高払い制度」では、実際に行った診療行為別に診療報酬点数表によって診療費用が計算されます。

これに対して、いくつかの診療行為をまとめて一定額の医療費を定めたものを「定額払い制度」といい、療養病床など一部に導入されています。定額払い制度は、過剰な検査・投薬・注射の抑制や、医療機関における請求事務の簡素化などが期待できる半面、粗診粗療、患者さんの選別、より良い医療の実現を阻む医療の硬直化といったデメリットも指摘されています。

2-2 医療保険制度の基本的な枠組み



2-3 主要国の医療保険制度

	制度の類型	適　用　対　象	医　療　給　付	管理運営機構
日本	国民皆保険による社会保険方式	医療保険／被保険者および家族 後期高齢者医療制度／ 75 歳以上の者および 65 歳以上 75 歳未満の者で一定の障害の状態にある者	現物給付 患者負担 ・義務教育就学後から 70 歳未満　3 割 ・義務教育就学前　2 割 ・70 歳以上 75 歳未満　2 割（現役並み所得者　3 割） ・後期高齢者　1 割（現役並み所得者　3 割）	全国健康保険協会 健康保険組合 各種共済組合 市（区）町村 後期高齢者医療広域連合
ドイツ	社会保険方式	被用者(年収６万4,350ユーロ以下)、年金受給者、失業手当受給者、農業経営者およびその家族従事者、芸術家、著述家など	現物給付 患者負担（例） ・薬剤・補助具　価格の 10%（5 ～ 10 ユーロ） ・入院　1 日 10 ユーロ（年 28 日限度） ・歯科補てつ　費用の 50%（定期検診を受けている場合には割合を引き下げ） 患者負担限度額：グロス収入の 2%（ただし、重度の慢性病患者は同 1%） 支給期間　制限なし	疾病金庫
フランス	社会保険方式	一般制度／民間商工業の被用者、年金受給者、自営業者など 特別制度／鉱夫、船員、国鉄、公務員など特殊職域の被用者 農業制度／農業労働者、農業経営者	現物給付 外来診療　一定の場合には療養給付（第三者払い）方式によるが、その他の場合には、医師の選択により、償還払い方式または療養給付方式による。 患者負担　30%（特定の疾患については 0%）ただし受診 50 回まで 1 回につき 1 ユーロ 薬剤費　薬効などに応じて、15%～ 100%、非代替薬など 100%、一般薬 65%、穏健薬 30%、気休め薬 15% 入院診療　療養給付方式 患者負担　20%（特定の疾患については 0%） 入院定額負担金　20 ユーロ／日(精神疾患の場合 15 ユーロ／日) 支給期間　制限なし	連帯・保健省 医療保険金庫
スウェーデン	医療サービス（広域自治体レギオーンによる主に税を財源とする現物給付） 社会保険方式（現金給付）	医療サービス／全居住者 現金給付／傷病手当基礎所得（SGI）が物価基礎額の 24% 以上の自営を含む就業者	医療サービス 自己負担額（具体的な額は地域により異なる） 外来（プライマリケア）：120 ～ 300 クローナ／1 回 外来（専門医）：200 ～ 400 クローナ程度／1 回 ※外来の自己負担額については法律により総額 1,150 クローナ／1 年の上限額を設定 さらに 85 歳以上の者について自己負担を免除(2017 年～) 入院：50 ～ 100 クローナ／日（法律により 100 クローナ／日の上限額を設定） 薬剤：法律により総額 2,350 クローナ／年の上限額を設定（18 歳未満の者は無料） 支給期間　原則として制限なし	医療サービス：レギオーンの責任により実施。国レベルでは保健福祉庁が医療サービスに関するガイドラインの作成や補助金の分配を、保健・福祉サービス監督庁が医療機関への監督を実施 現金給付：社会保険庁
イギリス	保健サービス（医療給付） 社会保険方式（現金給付）	医療給付／全居住者 現金給付／被用者、自営業者	現物給付（費用の全額） 患者負担（大幅な免除制度がある） ・一般歯科　3 段階定額負担 検査など 23.80 ポンド 補てつなど 65.20 ポンド 義歯など 282.80 ポンド ・薬剤　処方 1 件 9.35 ポンド 3 カ月分事前支払いでは 30.25 ポンド 12 カ月分事前支払いでは 108.10 ポンド ・検眼、めがね代　本人負担 支給期間　制限なし	雇用年金省、雇用年金省の雇用・給付センター事務所、保健省 歳入関税庁（保険料の徴収）
アメリカ合衆国	社会保険方式（高齢者・障害者医療保険のみ）	メディケア 65 歳以上の年金受給者、障害年金受給者、慢性腎臓病患者、保険料を任意に払う 65 歳以上の者	現物給付 入院などの病院の費用（パート A）、外来などの医師の費用（パート B）、処方箋薬剤（パート D）が給付される。給付の種類によって、それぞれ、免責額や自己負担の額は異なる。 ※パート C は、民間会社が提供。基本的にパート A と B の給付内容をカバーした上で、上乗せの給付がある。 （例） ・入院（パート A）：入院 1 回につき 1,484 ドルの免責額を負担。これに加え、入院後 1 ～ 60 日までは自己負担なし、61 ～ 90 日までは 1 日当たり 371 ドルの自己負担、91 日以降は、1 日当たり 742 ドルの自己負担（ただし、91 日以降自己負担の支払のみで済むのは生涯 60 日のみ。それを超えた場合は、全額自己負担となる） ・医師サービス（パート B）:年間 203 ドルの免責額を負担。免責額を超えた分について、20%の自己負担	保健福祉局（HHS） 州保健当局など

●出典：厚生労働省「厚生労働白書（令和 3 年版）」、一般財団法人厚生労働統計協会「保険と年金の動向 2021 ／ 2022」を基に日本製薬工業協会にて作成

さらに、急性期の入院医療の包括化に向けて、米国で実施されている「診断群別定額払い方式（DRG/PPS*）」を参考にした「医療機関ごとの診断群分類別の１日当たり定額払い方式（DPC*）」が、2003 年に特定機能病院など 82 施設で導入されました。その後、導入数は約 1,700 施設を超えるまでに拡大し、ここ数年は横ばいの推移となっています。2022 年の DPC 対象病院（2022 年 4 月見込み）は 1,764 病院、48 万 3,425 病床であり、一般病床（2020 年医療施設調査：88 万 7,920 床）の約 54％を占めています※1。

（2）国民医療費

厚生労働省が毎年発表する「国民医療費」は、各年度内に医療機関などで行われた病気やけがの治療に対して支払われた費用の推計で、日本の医療費の動向をほぼ正確に知ることができます。

2019 年度の国民医療費は 44.3 兆円（前年度比約 2.3％増）となり、過去最高を更新しています。国民１人当たりの医療費は年間 35 万 1,800 円で、前年度より 8,600 円増えており、国民所得に占める国民医療費の割合は 11.06％となっています（**2-4**）。国民医療費に占める 65 歳以上の医療費の割合は 61.0％（27.1 兆円）に達し、国民１人当たりの１年間の医療費は、65 歳未満の 19 万 1,900 円に対し、65 歳以上はその約４倍の 75 万 4,200 円となっています※2。

2-4 国民医療費、国民１人当たり医療費および対国民所得比率の年次推移

年　次	国民医療費 総額（億円）	国民医療費 増減率（%）	人口1人当たり国民医療費（千円）	国民医療費の国民所得に対する比率（%）	国民所得注1（億円）	国民所得注1 増減率（%）	総人口注2（千人）
1980	119,805	9.4	102.3	5.88	2,038,787	11.9	117,060*
1985	160,159	6.1	132.3	6.15	2,605,599	7.2	121,049*
1990	206,074	4.5	166.7	5.94	3,468,929	8.1	123,611*
1995	269,577	4.5	214.7	7.09	3,801,581	1.9	125,570*
2000	301,418	-1.8	237.5	7.73	3,901,638	3.2	126,926*
2005	331,289	3.2	259.3	8.54	3,881,164	-0.1	127,768*
2006	331,276	-0.0	259.3	8.39	3,949,897	1.8	127,770
2007	341,360	3.0	267.2	8.65	3,948,132	-0.0	127,771
2008	348,084	2.0	272.6	9.55	3,643,680	-7.7	127,692
2009	360,067	3.4	282.4	10.21	3,527,011	-3.2	127,510
2010	374,202	3.9	292.2	10.26	3,646,882	3.4	128,057*
2011	385,850	3.1	301.9	10.79	3,574,735	-2.0	127,799
2012	392,117	1.6	307.5	10.95	3,581,562	0.2	127,515
2013	400,610	2.2	314.7	10.75	3,725,700	4.0	127,298
2014	408,071	1.9	321.1	10.83	3,766,776	1.1	127,083
2015	423,644	3.8	333.3	10.79	3,926,293	4.2	127,095*
2016	421,381	-0.5	332.0	10.74	3,922,939	-0.1	126,933
2017	430,710	2.2	339.9	10.75	4,006,881	2.1	126,706
2018	433,949	0.8	343.2	10.79	4,022,290	0.4	126,443
2019	443,895	2.3	351.8	11.06	4,012,870	-0.2	126,167

注１：国内総生産および国民所得は、内閣府発表の「国民経済計算」による
　２：総人口は、総務省統計局「国勢調査」（＊印）および「人口推計」（各年 10 月 1 日現在）による
　３：2000 年 4 月から介護保険制度が施行されたことに伴い、従来国民医療費の対象となっていた費用のうち、介護保険の費用に移行したものがあるが、これらは 2000 年度以降、国民医療費に含まれていない。

●出典：厚生労働省「国民医療費」を基に日本製薬工業協会にて作成

※１：厚生労働省 中央社会保険医療協議会 総会（第 522 回）資料 総 4-3　※２：厚生労働省 令和元（2019）年度 国民医療費の概況

国内総生産（GDP）に占める総医療費比率を経済協力開発機構（OECD）諸国と比べると、2020年では日本は11.1％で、イギリス、フランス、ドイツ、米国より低くなっています（**2-5**）。また、2020年は各国ともに数値が増加しており、新型コロナウイルスの感染拡大の影響により、経済活動が停滞してGDPが減少したことと、保健医療支出が増加した影響と推測されます。

日本は、総人口に占める65歳以上の高齢者率※が、2022年の調査で29.1％となり、過去最高を更新しました。また、この高齢者率の割合は、世界で最も高い割合となっています。このように日本は、高い高齢者率であるにもかかわらず、GDPに占める総医療費比率は低く抑えられている状況となっています。

（3）薬剤費比率

厚生労働省は、診療行為の内容や薬剤の使用状況などの実態を明らかにするため、「社会医療診療行為別調査」を実施しています。これによると、国民医療費に占める投薬・注射の薬剤費割合は、1993年頃までは30％近くを占めていましたが、2000年以降は20％程度で推移し、2021年は20.5％となっています（**2-6**）。

（4）医療保険制度改革の動き

人口の急速な高齢化、医療の高度化などで医療費が増大するとともに、医療保険制度を支える世代の比率が低下するため、保険財政が近い将来に破綻することが懸念されています。また、経済成長の鈍化による税収入の減少は国の財政逼迫をもたらし、このまま医療費が増え続ければ、現在の税収では支出の継続が困難になり、国民の税負担が増える可能性もあります。

こうした背景から75歳以上の高齢者を対象に「後期高齢者医療制度」が2008年4月から実施されました。後期高齢者医療制度は、年齢による区分を行うことが批判されたため、一度は廃案になりましたが、2013年8月、社会保障制度改革国民会議により、「現行制度を基本としながら必要な改善を行うことが適当」とされました。

その後も医療保険制度改革は続けられており、2014年には地域医療介護総合確保基金が創設され、2018年には国民健康保険の運営責任が市町村から県へと移行し、70～74歳の患者負担の見直し（1割→2割）や、高齢者の高額療養費の見直しなど、持続可能な医療保険制度のための制度改革が進められています。

（5）医療保険外の医療

医療保険による診療で行える検査や治療、使うことのできる医薬品や材料などには制限があります。医療保険で認められていない検査や治療を、患者さんが自分の希望で受ける場合は「自由診療」と呼ばれ、全額が患者さんの負担になります。

2-5 GDPに占める総医療費比率の国別比較

（単位：％）

	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020
アメリカ合衆国	16.2	16.2	16.1	16.1	16.0	16.2	16.5	16.8	16.8	16.6	16.7	18.8
ドイツ	11.2	11.1	10.8	10.9	11.0	11.0	11.2	11.2	11.3	11.5	11.7	12.8
イギリス	10.0	10.0	9.9	9.9	9.8	9.8	9.8	9.7	9.6	9.7	9.9	12.0
フランス	11.3	11.2	11.2	11.3	11.4	11.5	11.4	11.5	11.4	11.2	11.1	12.2
日本	9.0	9.1	10.5	10.7	10.7	10.7	10.8	10.7	10.7	10.7	11.0	11.1

●出典：OECD Health Statistics 2022

2-6 一般診療点数に占める投薬・注射の薬剤費割合の推移

（単位：％，各年6月審査分）

	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
投薬・注射の薬剤費割合	21.5	21.5	21.7	21.5	21.8	21.9	22.0	21.4	21.8	22.9	20.5

●出典：厚生労働省「社会医療診療行為別統計」薬剤の使用状況を基に日本製薬工業協会にて作成

※：総務省統計局「人口推計」（2022年9月15日現在）

自由診療となるケースには、経口避妊薬（ピル）、脱毛症治療薬など、保険が適用されない医薬品を用いた治療があります。これらの医薬品は、他の医療用医薬品と同じく厚生労働省の審査・承認を経て販売されますが、保険の適用外のため、原則として診療費、薬剤費は全額自己負担となります。

一方、ひとつの病気の診療において、保険が適用される診療行為と適用されない診療行為を組み合わせた診療を「混合診療」と呼び、原則では認められていないため、どちらかを選択しなければなりません。そのため、自由診療を受けた場合は、その病気の診療に関するすべての費用（保険が適用される診療を含む）は患者さんの自己負担となります。

ただし、例外として混合診療が認められる場合があります。2006年から実施された「保険外併用診療費制度」における「評価療養」と「選定療養」の2つのケースです（**2-7**）。

「評価療養」とは、将来の保険適用を前提として、保険適用が適切であるかどうかの評価をする療養のことで、評価が確立すれば保険適用の対象となります。先進医療や医薬品の治験に関わる診療が含まれます。

「選定療養」とは、将来の保険適用を前提とせず、患者さんの選択に任せるものです。快適性・利便性に関わるものや、紹介なしに大病院で診療を受けること、所定の日数を超える入院などが含まれます。これらの選定療養を受けた場合は、療養全体にかかる費用のうち、本来保険が適用される基礎的部分に対して保険外併用療養費が支給されます。

なお、2008年4月に「高度医療評価制度」が開始され、その後、2012年10月からは「先進医療制度」として先進医療、高度医療が一本化となりました。これは、国内で認められていない医薬品・医療機器を用いた治療について保険診療との混合診療を可能にする制度です。

従来は、治療の一部に国内で未承認の抗がん剤を利用すると、本来保険が適用される診療も含めて全額が患者さんの自己負担となっていました。そのため患者さんの経済的負担が大きくなり、薬事法上の承認前でも保険診療との併用を認めてほしいとの要望が高まっていました。

新制度では自由診療と保険診療が併用できるため、全額自己負担となるのは、未承認薬の薬剤費や投与にかかる費用など保険外の費用のみとなります。制度が適用されるのは、厚生労働省の「先進医療会議」で安全性や有効性などが認められた医薬品・医療機器に限られ、実施できる医療機関も「特定機能病院」など、高度な医療を提供する一部の病院に限られます。この制度により、国内で未承認の良質なくすりをより早く経済的に利用することが可能になるものと期待されます。

また、2016年度からは新たな制度として「患者申出療養」制度が開始されました。患者申出療養は患者さんからの申し出を起点として、未承認薬などの適応外使用などを迅速に保険外併用療養として使用できるもので、将来的に保険適用につなげるためのデータ、科学的根拠を集積することを目的としています。

2-7「評価療養」と「選定療養」の具体的な対象

評価療養	選定療養
・先進医療 ・医薬品、医療機器、再生医療等製品の治験に係る診療 ・医薬品医療機器等法承認後で保険収載前の医薬品、医療機器、再生医療等製品の使用 ・薬価基準収載医薬品の適応外使用 （用法・用量・効能・効果の一部変更の承認申請がなされたもの） ・保険適用医療機器、再生医療等製品の適応外使用 （使用目的・効能・効果などの一部変更の承認申請がなされたもの）	・特別の療養環境（差額ベッド） ・歯科の金合金など ・金属床総義歯 ・予約診療 ・時間外診療 ・大病院の初診 ・大病院の再診 ・小児う蝕の指導管理 ・180日以上の入院 ・制限回数を超える医療行為 ・水晶体再建に使用する多焦点眼内レンズ

●出典：厚生労働省「先進医療の概要について」を基に日本製薬工業協会にて作成

医療・介護の総合的な確保

少子高齢化が急速に進む中、2025 年には団塊の世代が全て 75 歳以上となり、超高齢社会を迎えます。このような状況の中、医療については病気と共存しながら生活の質（QOL）の維持・向上を図っていく必要性が高まってきており、介護についても医療ニーズを併せ持つ重度の要介護者や認知症高齢者が増加するなど、医療および介護の連携の必要性はこれまで以上に高まってきています。

そうした中、わが国では、2014 年に「地域における医療及び介護の総合的な確保を推進するための関係法律の整備等に関する法律」（医療介護総合確保推進法）が成立し、地域における医療と介護の一体的で総合的な確保を推進しています。

地域における医療・介護の総合的な確保についての主な取り組みには、次のようなものがあります。

●新たな基金の創設と医療・介護の連携強化（地域介護施設整備促進法等関係）

都道府県が地域における医療および介護の総合的な確保のための事業の実施に関する計画を作成するとともに、事業を実施するための基金を各都道府県に設置します。

●地域における効率的かつ効果的な医療提供体制の確保（医療法関係）

医療機関がその有する病床の医療機能を都道府県に報告する病床機能報告制度の情報をもとに、都道府県では地域医療供給体制の目指すべき姿である地域医療構想（ビジョン）を策定します。

※地域医療構想（ビジョン）は、二次保健医療圏域ごとに、高度急性期、急性期、回復期、慢性期の各病床機能について、現状を把握するとともに 2025 年の必要病床を推計して、地域の医療提供体制の将来のあるべき姿を示し、地域ごとにバランスのとれた医療機能の分化・連携を進めるものです。

●地域包括ケアシステムの構築と費用負担の公平化（介護保険法関係）

地域包括ケアシステムとは、地域の事情に応じて、高齢者が住み慣れた地域で自立した日常生活が送れるように、医療、介護、介護予防、住まいおよび日常生活の支援が包括的に確保される体制を構築するものです。

また、介護費用が増大している状況を改善し、持続可能な介護保険制度を確保するため、一定以上の所得のある方の自己負担額を 2 割から 3 割に引き上げました。

さらに、全国一律であった予防給付を地域支援事業（介護保険財源で市町村が取り組む事業）に移行し、サービスの多様化を目指しています。

上記以外にも、「診療補助での看護師による特定行為の明確化」「医療事故調査制度の導入」などの取り組みが進められています。

医療提供体制

医療サービスを提供する医療機関には、病床数 20 床以上の「病院」や、19 床以下の「診療所」などがあります。近年、病院は微減傾向に、一般診療所と歯科診療所は微増傾向にあります。これら医療施設の総数は、2020 年 10 月 1 日現在で 17 万 8,724 施設、病床数は 159 万 3,633 床となり、ここ数年で大きな変動はありませんが、いずれも前年度より減少しています (**2-8**)。

医療サービス従事者の人口千人当たりの数を海外諸国と比べると、2020 年の日本の医師数は 2.6 人であり、この年の調査の OECD 加盟国の平均 3.6 人よりも少なく、上位の国と比較すると 5.1 人のノルウェーの半分程度となっています。また、看護師数は 12.1 人で、OECD 加盟国の平均 8.9 人より多くなっています。一方、薬剤師に関しては、2.0 人と OECD 加盟国の平均 0.9 人の約 2 倍となり、加盟国中トップとなっています (**2-9**)。

このように、日本の医療サービス従事者の数は、世界と比較して大きく不足しているということはありませんが、国内では 2025 年問題と呼ばれる超高齢社会の到来による医療や介護の需要と供給のバランスの崩壊が懸念されています。そこで、今後の人口減少・高齢化に伴う医療ニーズの質・量の変化や労働力人口の減少を見据え、質の高い医療を効率的に提供できる体制を構築するために、医療機関の機能分化や連携が進められています。

2014 年には「地域における医療及び介護の総合的な確保を推進するための関係法律の整備等に関する法律」（医療介護総合確保推進法）が公布され、持続可能な社会保障制度の確立を図る施策が推進されました。さらに、2016 年度には各都道府県の「地域医療構想」が策定されました。

「地域医療構想」の内容は、次のようになっています。

- 2025 年の医療需要と病床の必要量：高度急性期、急性期、回復期、慢性期の 4 機能ごとに医療需要と病床の必要量や在宅医療などの医療需要を推計する、など
- 目指すべき医療提供体制を実現するための施策：例えば、医療機能の分化・連携を進めるための施設整備、在宅医療などの充実、医療従事者の確保・養成、など

新型コロナウイルスの感染拡大により、医療提供体制が逼迫したのは記憶に新しいところです。患者さんのニーズに応え、医療提供の質・量を高める取り組みは、国レベルだけでなく、都道府県や地域での連携も視野に入れながら、今後も進められていきます。

2-8 医療施設数・病床数

年	施設数（病床数）	病院				一般診療所	歯科診療所
			精神科病院	結核診療所	一般病院		
2016	178,911（1,664,525）	8,442（1,561,005）	1,062	–	7,380	101,529（103,451）	68,940（69）
2017	178,492（1,653,303）	8,412（1,554,879）	1,059	–	7,353	101,471（98,355）	68,609（69）
2018	179,090（1,641,468）	8,372（1,546,554）	1,058	–	7,314	102,105（94,853）	68,613（61）
2019	179,416（1,620,097）	8,300（1,529,215）	1,054	–	7,245	102,616（90,825）	68,500（57）
2020	178,724（1,593,633）	8,238（1,507,526）	1,059	–	7,179	102,612（86,046）	67,874（61）

注：各年 10 月 1 日現在。
●出典：厚生労働省「医療施設調査」を基に日本製薬工業協会にて作成

2-9 医師数・看護師数・薬剤師数の国別比較（2020）

（人口千人当たり）

	医師	看護師	薬剤師		医師	看護師	薬剤師
日本	2.6	12.1	2.0	イタリア	4.0	6.3	1.2
カナダ	2.7	10.1	1.0	ノルウェー	5.1	18.0	0.9
フランス	3.2	–	1.0	イギリス	3.0	8.5	0.9
ドイツ	4.5	12.1	0.7	アメリカ合衆国	–	–	–

●出典：OECD Health Statistics 2022

医薬分業

「医薬分業」とは、患者さんが医師から院外処方箋の交付を受け、薬局で医薬品を調剤してもらうことです。医師は診療に、薬剤師は調剤にと、それぞれの専門分野の業務に専念することで、医療サービスの質的向上を図ることを目的としています。

医薬分業により患者さん一人ひとりが「かかりつけ薬局」を持つことが期待されています (2-10)。これにより、次のメリットが考えられます。

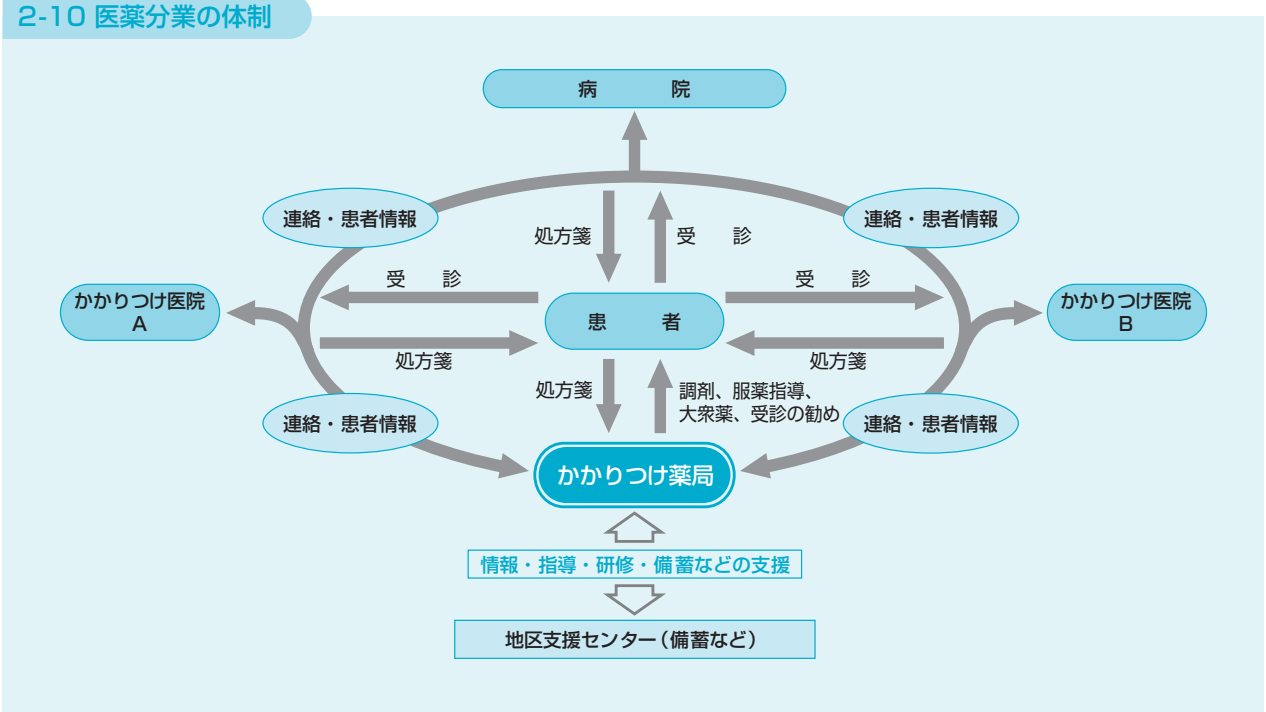
①使用したい医薬品が医師・歯科医師の手元になくても、患者さんに必要な医薬品を医師・歯科医師が自由に処方できること
②処方箋を患者さんに交付することにより、患者さんが自身の服用する薬について知ることができること
③「かかりつけ薬剤師・薬局」において薬歴管理を行うことにより、複数診療科受診による重複投薬、相互作用の有無の確認などができ、薬物療法の有効性・安全性が向上すること
④病院薬剤師の外来調剤業務が軽減することにより、本来病院薬剤師が行うべき入院患者さんに対する病棟活動が可能となること
⑤薬の効果、副作用、用法などについて、処方した医師・歯科医師と薬剤師が連携して患者さんに説明（服薬指導）することにより、患者さんの薬に対する理解が深まり、調剤された薬を用法どおり服用することが期待でき、薬物療法の有効性、安全性が向上すること

医薬分業は欧米の先進国では定着しています。日本でも、保険薬局の処方箋受取枚数を基準にした医薬分業率は、地域差などはあるものの年々増加傾向にあり、2003 年度に 50% を超えた後、2015 年度に 70.0%と初の 70% 台を突破した後、2021 年度には 75.3%※となっています。

医薬分業の今後の方向性としては、高齢化が進み、在宅医療を必要とする患者さんが増加する社会において、国民が医薬分業のメリットを最大限享受できるように、「かかりつけ薬局」には、以下のような役割も求められています。

●セルフメディケーションの推進：かかりつけ医との連携の上で、在宅医療も含めて患者さんに最適な医薬品を提供し、健康、栄養などの生活習慣全般に関する相談などを気軽に受ける
●地域包括ケアの推進：地域における総合的な医療・介護サービスを提供する一員として、「かかりつけ薬局」が患者さんごとに最適な薬学的管理・指導を行う

2-10 医薬分業の体制



●出典：厚生労働省「厚生労働白書（平成 22 年版）」

※：日本薬剤師会「医薬分業進捗状況／処方箋受け取り状況の推移〔全保健（社保 ＋ 国保＋後期高齢者）〕」より

緊急承認制度

緊急承認制度は、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の流行に伴う医薬品医療機器等法（薬機法）の改正で 2022 年に創設された薬事承認制度です。これまで特例承認制度がありましたが、COVID-19 の拡大により新薬やワクチンの早期承認・供給が必要とされ、新たな緊急時の承認制度として新設されました。

緊急承認制度はすべての医薬品が対象で、要件は緊急時に健康被害の拡大を防止するため、当該医薬品の他に代替手段がない場合です。通常の承認と同様に安全性の確認は求められますが、有効性については検証的臨床試験（第Ⅲ相臨床試験）を完了していなくても、申請時の試験成績から「推定」できれば承認されます。ただし、承認は期限および条件付きであり、2 年間で有効性の確認と安全性の再検証が求められます。期限内に再申請すれば延長は可能ですが、有効性が確認されなければ承認は取り消されます。なお、通常承認と同等水準の安全性が確認されていることが前提のため、医薬品副作用被害救済制度などの対象になります。

一方、従来の特例承認制度は、緊急時や他に代替手段がないという点は同じですが、海外（日本と同等水準の承認制度を有する国）で流通している医薬品が対象で、国内の医薬品は対象になりません。また、日本人に対する有効性と安全性を国内の臨床試験などで確認する必要があります（**2-11**）。

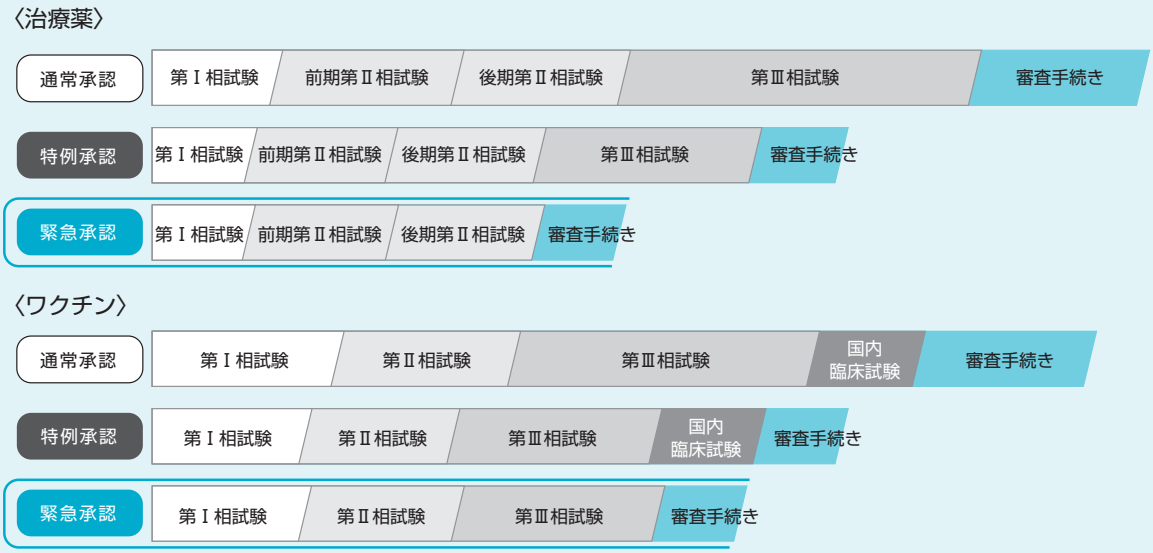
その他の迅速化のための制度として、オーファン・ドラッグ（希少疾病用医薬品）や先駆的医薬品などを対象とした条件付き早期承認制度があります。これらの医薬品は患者数が少ないため臨床試験の実施が困難、あるいは長期間を要するケースに対応した制度であり、緊急時の対応を主な適用場面として想定しているものではありません。

日本がこのような承認制度を有する一方、欧米各国では緊急時にリスクとベネフィットを考慮し、迅速な薬事許可を行う仕組みが整備されています。米国には、米食品医薬品局（FDA）が緊急時に未承認薬の使用許可や既承認薬の適応拡大を行う緊急使用許可（EUA：Emergency Use Authorization）があります。承認制度ではありませんが、限られたデータから有効性を推定し、ベネフィットがリスクを上回ると判断されれば使用可能とする仕組みです。

欧州連合（EU）には、欧州医薬品庁（EMA）による条件付き販売承認（CMA：Conditional Marketing Authorization）の制度があります。アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の迅速な供給のため、通常必要なデータがそろわない段階でも 1 年間の条件付きで製造販売が承認されます。ローリング･レビュー（逐次審査）と Accelerated Assessment（画期的な新薬に対する審査期間の短縮）を併用し、審査期間の短縮を図っています。2020 年に EU を離脱した英国も、ローリング・レビューにより前倒しで審査を開始し、承認を迅速化しています。

また、世界保健機関（WHO）は 2014 ～ 16 年のエボラ出血熱のアウトブレイクを受け、「緊急使用の評価・リスト収載（EUAL）」の仕組みを構築しました。未承認の医薬品について WHO が有効性や安全性を審査・承認し、緊急使用リスト（EUL）に収載することで、審査体制が整わない国が緊急承認をする際に参考にできる仕組みです。EUL 収載は、ワクチンを共同購入･配分する国際的な枠組み「COVAX（コバックス）ファシリティー」で供給される医薬品の条件となります。

2-11 新薬・ワクチンの緊急承認制度と特例承認制度



●出典：厚生労働省「医薬品等の緊急承認制度について」

2. 薬価制度

「薬価基準」とは、保険診療に用いることができる医薬品の「品目」と「価格」を定めたものをいい、厚生労働大臣によって定められる公定価格です。

日本の薬価は、自由価格制度を採用する米国、ドイツなどに比べて安価になる傾向にありますが、日本においても新薬の価値が適正に反映されて薬価が定められる必要があります。なぜなら、新薬が適正に評価されることではじめて医薬品の研究開発とイノベーションが促進され、その成果として新薬が創出され、国民の利益を最大化できることにつながるからです。

医療保険制度に組み込まれて運営されている薬価基準制度は、「医療費の効率化」のもとに厚生労働省による改革が進められてきました（2-12）。

2008年度の薬価制度改革では、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を踏まえて、革新的新薬の適切な評価に重点が置かれた一方、後発医薬品が新たに収載された先発品（長期収載品）は、追加的に薬価が引き下げられています。

2010年度では、現行の薬価算定方式を基本としつつ、市場拡大再算定、不採算品再算定、最低薬価の見直しなどが行われました。また、大きな変更として、一定の要件を満たした特許期間中または再審査期間中の新薬の薬価が下がらない仕組みとして、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、新薬創出等加算）」が試行的に導入されました。

2012年度では、2010年度と同様に、①未承認薬・適応外薬の問題の解消や、②革新的新薬の開発のためのインセンティブを確保するとともに、後発医薬品の薬価の大幅なばらつきの是正などにより、後発医薬品への置き換えが着実に進むような薬価制度としていくとの考えに基づいた改定が行われました。

2014年度では、2012年度と同様に、特許期間中の革新的新薬の適切な評価に重点を置き、特許の切れた新薬については、後発医薬品への置き換えが着実に進むような薬価制度としていくとの考えに基づいた改定が行われました。

2016年度では、「経済財政運営と改革の基本方針2015（いわゆる骨太の方針、2015年6月30日閣議決定）」に後発医薬品の数量シェア目標値を80%以上にすること、あわせて基礎的な医薬品の安定供給、成長戦略に資する創薬に関わるイノベーションの推進、真に有効な新薬の適正な評価などが明記され、それに基づいた改革が行われました。

その後、薬剤費推計に基づく国家財政への懸念に端を発した高額薬剤への対応検討とともに、薬価制度の抜本改革への議論が進み、「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（2016年12月20日：四大臣合意）」が策定されました。2018年度はその基本方針に基づき、毎年の薬価調査・薬価改定、長期収載品の薬価のあり方、「新薬創出等加算」の抜本的見直しなどが検討され、薬価制度の抜本改革が行われました。

2019年度には、費用対効果評価制度が導入され運用が開始されるとともに、10月には、消費増税に伴い薬価に適正な消費税転嫁を実施するため、市場実勢価格を反映して薬価改定を行う臨時的な改定が実施されました。

2020年度は、2018年度の薬価制度抜本改革に引き続き、「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」を両立し、国民が恩恵を受ける「国民負担の軽減」と「医療の質の向上」を実現する観点から制度見直しの検討がなされ、新薬創出等加算制度や新薬の薬価算定方式（類似薬効比較方式および原価計算方式）の一部見直しや再算定の仕組み強化などが行われました。

2021年度は、2020年12月の「毎年薬価改定の実現について（内閣官房長官、財務大臣、厚生労働大臣合意）」に基づき、乖離率5%を超える品目を対象範囲とし、薬価改定において「新型コロナウイルス感染症特例」として薬価削減幅を緩和したうえで（調整幅2%＋一定幅0.8%）、初の中間年改定が実施されました。

2022年度は、「骨太の方針2021、成長戦略実行計画（2021年6月18日閣議決定）」に薬価制度において新薬のイノベーション評価および長期収載品などの評価の見直しの検討について掲げられました。それらを踏まえ、新薬創出等加算制度や新薬算定時および改定時の加算の一部見直し、市場拡大再算定のルールの一部緩和などが行われました。

2-12 最近の薬価基準改定率の変遷

薬価改定実施年月	薬価改定率			薬価算定における価格幅	診療報酬引上率[注2]
	薬価ベース	1992年改定前1錠100円の医薬品の価格	医療費ベース		
1992年4月	-8.1%	91.9円	-2.4%	R幅　15%	5.0%
1996年4月	-6.8%	80.0円	-2.5%	R幅　11%	3.4%
1997年4月	-3.0%[注1]	77.6円[注1]	-0.87%[注1]	R幅　10%　長期収載品R幅　8%	1.25%
1998年4月	-9.7%	70.1円	-2.7%	R幅　5%　長期収載品R幅　2%	1.5%
2000年4月	-7.0%	65.2円	-1.6%	調整幅　2%	1.9%
2002年4月	-6.3%	61.1円	-1.3%	調整幅　2%　先発品の追加引下率　平均5%	-1.3%
2004年4月	-4.2%	58.5円	-0.9%	調整幅　2%　後発品が新たに収載された先発品の追加引下率　おおむね6%	0%
2006年4月	-6.7%	54.6円	-1.6%	調整幅　2%　後発品が新たに収載された先発品の追加引下率　おおむね8%、さらに過去特例引き下げ品目2%の追加引き下げ	-1.4%
2008年4月	-5.2%	51.8円	-1.1%	調整幅　2%　後発品が新たに収載された先発品の追加引下率　おおむね6%	0.38%
2010年4月	-5.75%[注3]	48.8円	-1.23%	調整幅　2%　後発品が新たに収載された先発品の追加引下率　おおむね6%	1.55%
2012年4月	-6.00%[注4]	45.9円	-1.26%	調整幅　2%　後発品が新たに収載された先発品の追加引下率　おおむね6%	1.38%
2014年4月	-2.65% 2.99% （消費税対応分）	44.7円	-0.63% 0.73% （消費税対応分）	調整幅　2%　後発品が収載されて5年経過した後の先発品の引下率　3段階に ②2.0%、④1.75%、⑥1.5%	0.1% 1.36% （消費税対応分）
2016年4月	-5.57%	42.2円	-1.22% 市場拡大再算定 -0.19% 特別再算定 -0.28%	調整幅　2%　後発品が収載されて5年経過した後の先発品の引下率　3段階に ③2.0%、⑤1.75%、⑦1.5%	0.49%
2018年4月	-7.48%	39.0円	-1.65%	調整幅　2%　後発品が収載されて5年経過した後の先発品の引下率　3段階に ④2.0%、⑥1.75%、⑧1.5% その他、後発品収載後10年を経過した長期収載品の後発品価格への引き下げを実施	0.55%
2019年10月	-4.35% 1.95% （消費税対応分）	37.3円	-0.93% 0.42% （消費税対応分）	調整幅　2%	0.41%
2020年4月	-4.38%	35.7円	-0.99%	調整幅　2%　後発品が収載されて5年経過した後の先発品の引下率　3段階に 2.0%、1.75%、1.5% その他、後発品収載後10年を経過した長期収載品の後発品価格への引き下げを実施	0.55%[注5]
2022年4月	-6.69%	33.2円	-1.35%[注6]	調整幅　2%　後発品が収載されて5年経過した後の先発品の引下率　2段階に 2.0%、1.75% その他、後発品収載後10年経過した長期収載品の後発品価格への引き下げを実施	0.55%

注1：消費税率引き上げに伴う改定を含む。
2：医科、歯科および調剤の平均引上率。
3：後発品のある先発品に対する0.9%の引き下げ分は含まず。
4：後発品のある先発品に対する0.86%の引き下げ分、および後発品に対する0.33%の引き下げ分は含まず。
5：消費税財源を活用した救急病院における勤務医の働き方改革への特例的な対応を含む。
6：実勢価等改定分-1.44%、不妊治療の保険適用のための特例的対応分+0.09%

●出典：厚生労働省「薬価改定の経緯と薬剤費及び推定乖離率の年次推移について」、各年度の「薬価基準改定の概要」より日本製薬工業協会にて作成

（1）薬価基準

医療用医薬品は、ほとんどが医療保険制度のもとで用いられるので、製造販売承認を取得するだけでなく、薬価基準に収載されることが必要です。薬価基準への収載方式は次の２つがあり、原則的には銘柄別収載方式で収載され、一部が統一名収載方式で収載されています。

①銘柄別収載方式

医薬品の個々の銘柄ごとに薬価を設定する方式。新薬として製造販売承認を得た医療用医薬品やはじめて薬価収載される後発医薬品などに用いられている。

②統一名収載方式

成分・剤形・規格ごとに名称（一般名）を付して薬価収載する方式。先発品の薬価の 30％を下回る後発医薬品や日本薬局方に収載されている医薬品などは、この方式で薬価が収載される。

（2）薬価改定

薬価基準は、医療用医薬品の公定価格として実際の購入価格が反映されていることが前提になっています。しかし、実際の取り引きでは、医療機関によって購入量などにより取引条件が異なるため、市場取引価格はひとつではなく、ある程度のばらつきが生じます。薬価と実際の市場取引価格との差が、いわゆる「薬価差」と呼ばれるものです。

厚生労働省は「医療機関の医薬品の平均購入額を補償する」という考え方に基づき、薬価基準収載医薬品の市場価格を薬価に反映させるため、市場取引価格の調査（薬価調査）を行い、おおむね２年に１回の頻度で薬価の見直し（薬価改定）を行っていますが、市場実勢価格を適時に薬価に反映し国民負担を軽減するとの考え方から、２年に１度の薬価改定の間の年度において、薬価との乖離幅の大きい品目を対象に「中間年改定」を実施することが決まっています。

また、2010 年の改定で試行的に導入された「新薬創出等加算」は、2018 年の薬価制度の抜本改革において、加算適用の対象範囲が絞り込まれて制度化されました。

市場実勢価格加重平均値調整幅方式によらない薬価改定

薬価改定では、市場実勢価格に基づく通常改定のほかにさまざまな特例的なルールが適用され、主に薬価の引き下げが行われます。

はじめて後発医薬品が薬価収載された先発品が５年間を経過し、10 年を経過しないもののうち、後発医薬品への置き換えが進まない先発品の特例引下げ（Z2）の引下げ幅は、政府目標の変更に伴い、2022 年度には後発医薬品への置き換え率が 60% 未満では 2.0%、60% 以上 80% 未満では 1.75% に見直されました。2018 年の薬価改定では、後発品収載後 10 年を経過した長期収載品については、後発品への置き換え率によって、「G1 品目」「G2 品目」「C」に区分され、それぞれに応じた薬価引き下げ制度が導入されました。

ほかに、市場価格によらない薬価改定ルールとして「再算定」があります。再算定には市場拡大再算定、効能変化再算定、用法用量変化再算定などがあります。

〔参考例〕市場拡大再算定

市場拡大再算定とは、新薬を開発した製薬企業が発売前に想定したピーク時の年間販売額に対して、実際の年間販売額が大幅に上回った場合（想定の２倍以上かつ 150 億円を超えるもの、または想定の 10 倍以上かつ 100 億円を超えるもの）に、薬価を再算定するルールで、原価計算方式により薬価算定されたものや、使用方法や適用対象が変化したことで使用実態が大きく変わったものに適用されます。2016 年度の薬価改定では、単に販売額（1,000 億円超）と拡大倍率だけで薬価を再算定する特例再算定が導入されました。また 2018 年度には、年４回ある新薬の薬価収載の機会に、効能追加などがなされた品目で販売額が一定の条件を上回った場合には次の薬価改定を待たずに薬価を再算定するルールも導入されました。さらに 2020 年度には過去に市場拡大再算定の対象となった品目が、再度販売額の増加により改めて再算定の対象となる場合の取り扱いが厳格化されました。2022 年度には、市場拡大再算定の特例が適用されたのち、４年間は市場拡大再算定の類似品の対象から除外される見直しがなされましたが、類似品の除外基準に係る根本的な課題の解決には至っておりません。

これらは医薬品の市場実勢価格と無関係に薬価を引き下げるルールともいえ、新薬開発におけるイノベーションを促進するという国の考え方にも逆行します。

薬価改定は、「市場実勢価格加重平均値調整幅方式」という仕組みで行われます。銘柄別の取引価格の加重平均値に消費税を加え、さらに現行薬価の一定割合（調整幅）を加えた算定額を新薬価（改定後薬価）とするものです。ただし、その額が現行薬価を超える場合は、現行薬価（改定前薬価）を上限としているため据え置かれます。

加重平均値はすべての取引価格と取引数量を反映した価格のため、加重平均値＋消費税を薬価とした場合、小規模の医療機関や医療上必要性の高い小包装医薬品などの取り引きに不都合が生じ、安定的な購入が難しくなることが懸念されます。それを回避するため、加重平均値＋消費税に一定の割合（調整幅）を加えて改定薬価が算定されます（**2-13**）。

2000年以降、流通安定のために必要な最低限の手当てとして2%を加えるという考え方で現在に至っています。

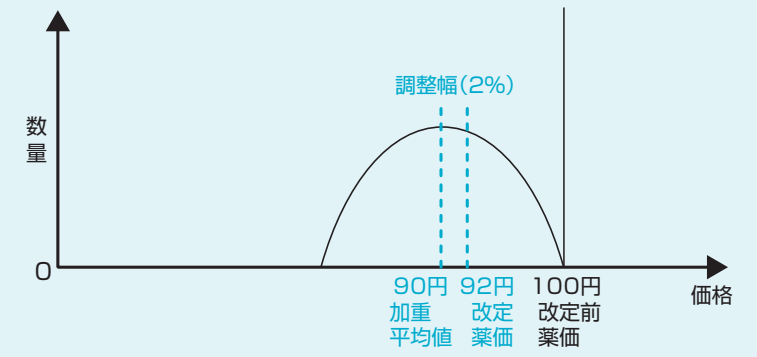
（3）新薬の薬価算定

新たに承認された新薬が薬価基準に収載されるときの薬価は、原則として「類似薬効比較方式」と呼ばれる方式で算定されます。

この方式では、すでに薬価基準に収載されている医薬品の中から、効能・効果、薬理作用、組成・化学構造式、投与形態、剤形区分、剤形・用法からみて新薬と最も類似したものを比較薬として選び、1日当たりの薬価比較によって算定され、さらに、臨床データに基づき、画期性・有用性（有効性と安全性）・市場性などにより補正加算が行われます（**2-14**、**2-15**）。類似薬がすでに3種類以上あると、新規性に乏しい新薬とみなされ、その薬価は一定のルールに基づき低く算定されます。また、適切な類似薬のない新薬の薬価は、「原価計算方式」で算定されます。

2021年度までの直近5年間の新薬の薬価算定ルー

2-13 薬価算定方式



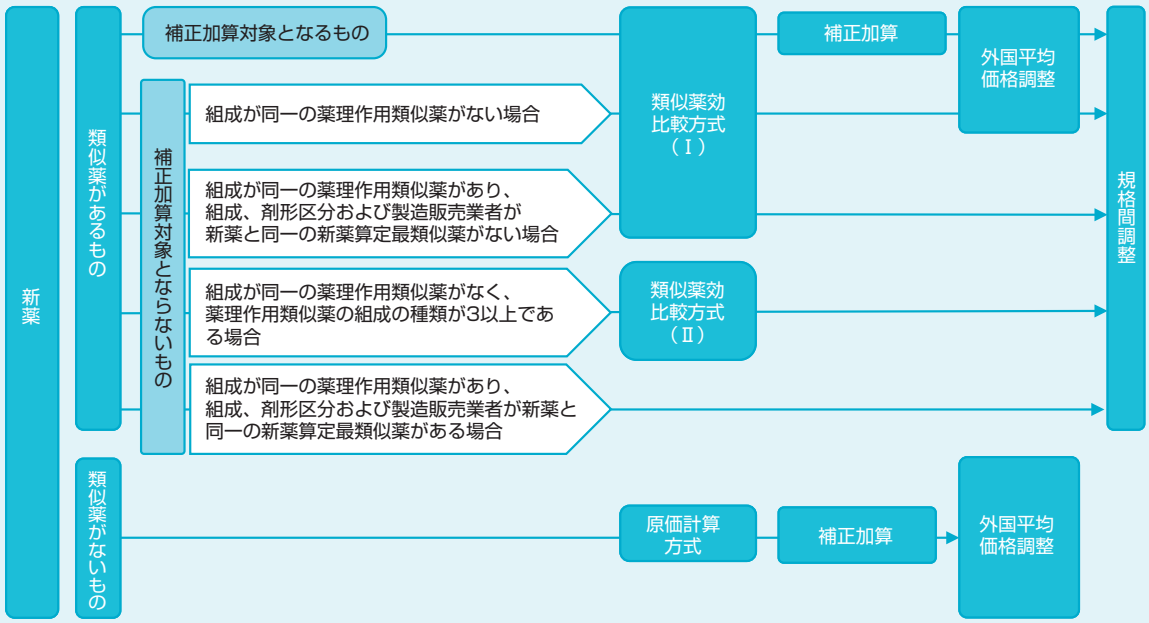
改定薬価＝
（消費税を含む市場実勢価格の加重平均値）＋（調整幅[注]）

注：調整幅は改定前の薬価の2%に乗じた額

●改定薬価の事例：
改定前の薬価、1錠100円の医薬品が、消費税を含む市場実勢価格の加重平均値では90円で取り引きされていた場合、改定薬価は次のように計算されました。

90円＋（100円×0.02）＝92円・・・・改定薬価

2-14 新医薬品の薬価算定方式



ルに基づき画期性・有用性を評価した加算の運用実績は、薬価収載された250成分のうち、類似薬効比較方式により算定された成分で、画期性加算0成分、有用性加算（Ⅰ）5成分、有用性加算（Ⅱ）39成分が適用され、原価計算方式では、画期性加算2成分、有用性加算（Ⅰ）8成分、有用性加算（Ⅱ）27成分が適用され、有用性系加算が計81成分に適用されました（**2-16**）。

なお、外国ですでに販売されている医薬品については、外国平均価格調整というルールによりさらに調整が行われます。このルールは、算定された価格が外国価格（米国・イギリス・ドイツ・フランス）の平均の1.25倍を超える場合または0.75倍未満の場合、算定された価格と外国平均価格を用いて引き下げる、または引き上げるというものです。2021年度に収載された54成分のうち、外国価格が1カ国あるとされたものは5成分、2カ国以上あるとされたものは14成分でしたが、外国平均価格調整の対象となった新医薬品はありませんでした。

日本の新薬の価格が外国価格に比べて低くなる傾向にあったのは、過去において特許期間中の新薬であっても度重なる薬価改定により、類似薬効比較方式で算定する際の比較薬の価格が低下したためと考えられます。さらに、日本の薬価算定が公定価格であるのに対して、米国・イギリス・ド

2-15 新薬の補正加算の種類と要件

補正加算の種類	補正加算率	補正加算の主な要件
①画期性加算	70～120%	新規の作用機序、有用性、治療方法の改善の３要件いずれも
②有用性加算（Ⅰ）	35～60%	新規の作用機序、有用性、治療方法の改善のいずれか２要件
③有用性加算（Ⅱ）	5～30%	新規の作用機序、有用性、治療方法の改善、製剤工夫のいずれか
④市場性加算（Ⅰ）	10～20%	オーファン・ドラッグ
⑤市場性加算（Ⅱ）	5%	市場規模が小さい医薬品
⑥小児加算	5～20%	主な効能・効果、用法・用量に小児に係るものが含まれる
⑦先駆け審査指定制度加算	10～20%	先駆け審査指定品目

●出典：厚生労働省「薬価算定の基準について」（2020年２月７日）

2-16 新薬の薬価算定のルールに基づく運用実績

算定類型区分	2017		2018		2019		2020		2021		累計	
	成分	品目	成分	品目	成分	品目	成分	品目	成分	品目	成分	品目
原価計算方式	10	15	8	8	11	13	16	19	18	24	63	79
画期性加算	0	0	2	2	0	0	0	0	0	0	2	2
有用性加算（Ⅰ）	1	1	1	1	2	4	2	2	2	2	8	10
有用性加算（Ⅱ）	2	3	4	4	4	4	7	7	10	15	27	33
先駆加算	0	0	0	0	0	0	4	4	0	0	4	4
平均的営業利益率（プラス）	3	4	—	—	—	—	—	—	—	—	3	4
平均的営業利益率（マイナス）	0	0	0	0	1	1	0	0	0	0	1	1
類似薬効比較方式（Ⅰ）	27	41	35	50	28	52	22	40	33	56	145	239
画期性加算	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
有用性加算（Ⅰ）	0	0	1	5	2	4	0	0	2	2	5	11
有用性加算（Ⅱ）	4	6	12	16	4	7	7	14	12	19	39	62
先駆加算	1	2	2	2	1	2	1	1	1	1	6	8
その他	6	20	8	17	9	16	14	31	3	9	40	93
総計＊	43	77	51	75	49	84	53	94	54	89	250	419

＊総計にのみ集計（別銘柄として算定せず、2017年１品目、2019年１成分３品目、2020年１成分４品目）
●出典：日本製薬団体連合会　保険薬価研究委員会調べ

イツでは、原則として新薬を開発した製薬企業が自由に価格を決められる自由価格制度となっていることも一因となっています。これらの結果、日本では製薬企業の新薬開発意欲を損なうことになり、患者さんの新薬へのアクセス問題（ドラッグ・ラグ）につながっていることが懸念されていました。

2010年度より試行的に導入された「新薬創出等加算」は一定条件を満たせば特許期間中は薬価が下がらないルールとなっているため、イノベーションを評価する仕組みとして高く評価されています。試行導入されたことにより製薬協会員会社は国内の研究開発やドラッグ・ラグの解消に意欲的に取り組んでおり、さらに本ルールがこのまま制度化されれば、革新的新薬の創出をいっそう促進させると期待されました。

2016年度薬価制度改革においては、イノベーションの評価として、先駆け審査指定された品目は先駆け審査指定制度加算の適用を受けるルールや、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議より開発要請や公募された品目については外国価格が極端に低い場合は外国平均価格調整の対象から除外するルールが導入されました。

2018年度の薬価制度抜本改革では、「新薬創出等加算」は大幅に見直しが行われ、加算の対象が新薬の一部に限定されるとともに新たな企業指標が導入されることにより適用範囲が絞り込まれるという厳しい内容となりました。

2019年度には、2012年度から一部品目で試行を含め議論が継続されてきた費用対効果評価が制度として導入され運用が開始されました。

2020年度は、2018年度に引き続き「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」に基づく制度改革が実施され、限定的ではありますが「新薬創出等加算」の企業指標に革新的新薬の開発や収載実績をより評価する指標が追加されました。

2022年度は、「新薬創出等加算」の品目要件に有用性加算などに相当する効能追加などをした品目、特定用途医薬品が追加され、企業要件には新型コロナウイルス感染症のワクチン・治療薬の開発に対する評価が加えられました。また、先駆的医薬品・特定用途医薬品については、新規収載時に加算の対象とすることとされました。一方で原価計算方式のルール見直しでは、薬価算定の透明性を確保する観点から、開示度50％未満の場合の加算係数が0.2から0に引き下げられました。

先駆的医薬品等指定制度（先駆け審査指定制度）

先駆的医薬品等指定制度（先駆け審査指定制度）とは、世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化することを目的として、その開発を促進する制度です。厚生労働省内のプロジェクトチームが2014年6月に取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策の一つとして位置づけられており、「日本再興戦略」においても、世界に先駆けた革新的医薬品などの実用化の推進を図る施策として掲げられていたものです。

これを受けて、2015年度より「先駆け審査指定制度」が試行的に運用され、2019年の法改正により、新たに先駆的医薬品などが法制化され、新たに「先駆的医薬品等指定制度」として創設されています。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取り扱いをすることで、通常12カ月を目標に行われている審査を、半分の6カ月に短縮することが可能になるものです。指定制度では、1．優先相談（2カ月→1カ月）、2．事前評価の充実（実質的な審査の前倒し）、3．優先審査（12カ月→6カ月）、4．審査パートナー制度（PMDA版コンシェルジュ）、5．製造販売後の安全対策充実（再審査期間の延長）によって、開発の促進を支援します。

先駆け審査指定制度としては2015年10月以降、5回の指定が行われ、医薬品では合計22品目が指定され、そのうち13品目が薬事承認を受けています（2022年3月現在）。また先駆的医薬品としては1品目が指定されています（2021年12月現在）。

（4）2022 年薬価改定などの議論を踏まえた今後の課題

「経済財政運営と改革の基本方針 2021」（2021 年 6 月 18 日閣議決定）に記載された「革新的な医薬品におけるイノベーションの評価の観点」を踏まえ、薬価収載後のイノベーション評価や市場拡大再算定の対象品目の類似品の取り扱いなどの一定のルール改善が図られたものと認識しています。一方で、原価計算方式における、開示度 50％未満の品目全てにおいて、有用性加算および先駆的医薬品に関わる加算などが全く薬価に反映されないという見直し（加算係数“0”）は、イノベーションの評価や、特に医療上必要とされる医薬品の開発・上市を促進する観点から適切ではありません。国民により早く革新的新薬を届ける観点から、特許期間中の新薬の適正な薬価水準が維持される仕組みの構築に向けた検討が今後も進められるべきと考えます。

いずれにしても、医療に貢献する新薬創出が健康長寿社会の実現にとって極めて重要なものであるとの理解とともに、イノベーションの価値が適切に評価される薬価制度の存在がこれを支える産業政策として重要であることを、引き続き関係者に十分理解してもらう必要があります。

新薬創出・適応外薬解消等促進加算

2010 年 4 月、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、新薬創出等加算）が試行的に導入され、2016 年 4 月の薬価改定までに 4 回実施され、2018 年の薬価制度抜本改革において抜本的に見直されました。また 2020 年度、2022 年度の制度改革で企業指標や品目要件が一部見直されました。このコラムでは、新薬創出等加算の制度概要、今後の課題について触れてみます。

［新薬創出等加算の制度概要］

●加算対象となる新薬の範囲

1）薬価収載後 15 年以内で、かつ後発品が収載されていないこと

2）次のいずれかの要件に該当すること

①希少疾病用医薬品として指定された効能又は効果について承認を受けている医薬品

②未承認薬等検討会議における検討結果を踏まえ、厚生労働省が開発を公募した医薬品

③薬価収載の際、画期性加算、有用性加算（Ⅰ）、有用性加算（Ⅱ）若しくは営業利益率のプラスの補正の対象となった医薬品、薬価改定までに、これらの加算に相当すると認められる効能又は効果が追加されたもの又は薬価改定の際、市販後に真の臨床的有用性が検証された既収載品の薬価の改定の特例を受けた医薬品（以下「加算適用品」という）

④新規作用機序医薬品又は新規作用機序医薬品に相当すると認められる効能効果が追加されたものであって、革新性・有用性に係る基準に該当する医薬品

⑤薬価収載時に薬理作用類似薬が1又は2であり、かつ最も早く収載された薬理作用類似薬の収載から3年以内に収載された医薬品であって、薬理作用類似薬のうち最も早く収載された医薬品が加算適用品又は革新性・有用性に係る基準に該当するもの

⑥先駆的医薬品であって、当該医薬品の指定に係る効能・効果又は用法・用量が承認されたもの

⑦特定用途医薬品であって、当該医薬品の指定に係る効能又は効果又は用法及び用量について承認を受けているもの

⑧薬剤耐性菌の治療に用いる医薬品

3）新医療用配合剤の特例で薬価算定されることとなる配合剤に相当するものについては、薬価収載の日から 15 年を経過した既収載品の有効成分又は後発品が薬価収載されている既収載品の有効成分を含有するものでないこと

4）再算定対象品でないこと

上記1）～4）の要件を全て満たしたものが加算対象となります。

●対象となる企業と薬価の改定方法

新薬創出等加算については、未承認薬等検討会議における検討結果を踏まえ厚生労働省から開発を要請された品目について、開発の拒否、合理的な理由のない開発の遅延など、適切に対応を行わなかった企業はこの制度の対象外となります。

加算対象となる新薬については、対象となる企業が製造販売するものに限り、改定前薬価を上限として加算します。

〔次頁に続く〕

●加算額の計算方法

対象品目の市場実勢価格の薬価に対する乖離率が、全ての既収載品の平均乖離率以内の場合と超える場合で計算方式が異なります。

①平均乖離率以内の場合

新薬創出等加算の適用前の価格×（全ての既収載品の平均乖離率－2/100）×0.8

②平均乖離率を超える場合

新薬創出等加算の適用前の価格×（全ての既収載品の平均乖離率－2/100）×0.5

さらに、対象となる企業は、企業指標に基づいて分類され、その区分に従って加算係数が割り振られ、上記の値に対してその係数を乗じることとなります。

●企業指標および分類方法

次の表（**2-17**）の各項目ごとに、右欄に掲げるポイントを合計し、企業指標に基づくポイントとします。

2-17 企業指標

	指標の内容	
A-1	国内試験（日本を含む国際共同試験を含む）（実施数）（Phase Ⅱ以降）	上位 25% 4ポイント 中位 50% 2ポイント
A-2	新薬収載実績（収載成分数）（過去5年）	上位 25% 4ポイント 中位 50% 2ポイント
A-3	革新的新薬の収載実績（過去5年）	実績あり　2ポイント
A-4	薬剤耐性菌の治療薬の収載実績（過去5年）	1品目について2ポイント
A-5※1 新設	新型コロナウイルスの治療等に用いる医薬品（過去5年）	1品目について4ポイント
B-1	開発公募品（開発着手数）（過去5年）（B-2 分を除く）	1品目について2ポイント
B-2	開発公募品（承認取得数）（過去5年）	1品目について2ポイント
C-1※2	世界に先駆けた新薬の開発（品目数）（過去5年）	1品目について2ポイント
C-2※3 新設	特定の用途に係る医薬品の開発（品目数）（過去5年）（A-4 分を除く）	1品目について2ポイント

※1：A-5 については、新型コロナウイルスによる感染症の治療または予防に用いるもので、薬事審査において新型コロナウイルスによる感染症に対する治療または予防効果が明確になったものに限り、ワクチンを含む。
※2：C-1 については、先駆的医薬品の指定数とする。
※3：C-2 については、特定用途医薬品の指定数とする。
●出典：厚生労働省「令和4年度薬価基準改定の概要」（2022 年 3 月 4 日）

企業指標に基づくポイントを比較し、上位 25%以内の企業が区分Ⅰ、最低点数の企業がⅢ、それ以外がⅡに割り振られ、次の表（**2-18**）の下欄の値が加算係数となります。

2-18 分類方法

区分	Ⅰ	Ⅱ	Ⅲ
範囲	上位 25%	Ⅰ、Ⅲ以外	2 ポイント以下
加算係数	1.0	0.9	0.8

●出典：厚生労働省「令和4年度薬価基準改定の概要」（2022 年 3 月 4 日）

〔次頁に続く〕

● 2022 年 3 月現在、加算要件を満たした成分数・品目数については、次の表（**2-19**）のようになっています。

2-19 加算要件を満たした成分数・品目数

	成分数	品目数
①希少疾病用医薬品	187 成分	277 品目
②開発公募品	13 成分	23 品目
③加算適用品	86 成分	162 品目
④新規作用機序医薬品のうち基準該当品	42 成分	69 品目
⑤新規作用機序医薬品から３年以内かつ３番手以内のうち１番手が加算適用品又は基準該当品	20 成分	40 品目
合計	348 成分	571 品目

注：複数区分に該当する場合は、上の区分に分類（この他の要件に、⑥先駆的医薬品、⑦特定用途医薬品および⑧薬剤耐性菌の治療薬があるが、⑦に該当するものはなし）

●出典：厚生労働省「令和４年度薬価基準改定の概要」（2022 年 3 月 4 日）

●後発品上市後の薬価算定

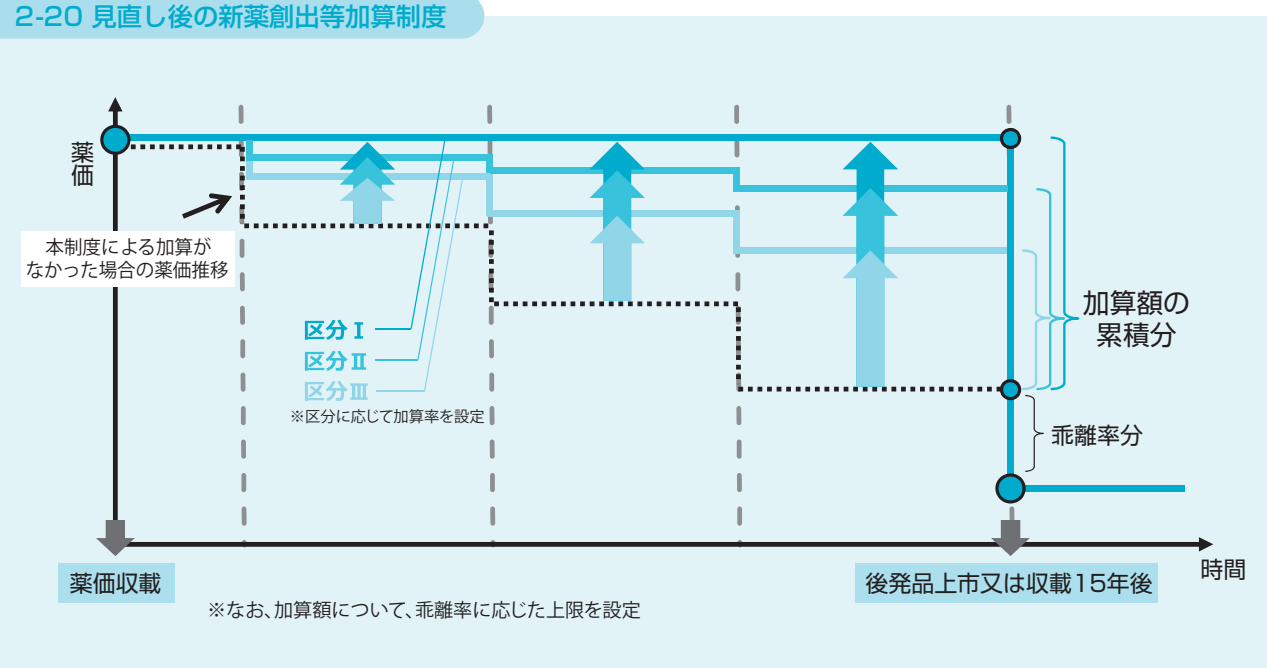
新薬創出等加算を受けたことのある既収載品は、はじめて後発品が上市された場合や薬価収載から 15 年を経過した場合に、通常改定に加え、それまでに受けた新薬創出等加算の累積額部分が引き下げられます。

●今後の課題

2018 年度の新薬創出等加算の抜本的な見直しにより、対象品目が大幅に絞り込まれるとともに、薬価が必ずしも維持されない仕組みとなりました（**2-20**）。これは、新薬への研究開発投資を回収できないリスクを高め、製薬企業の開発に対するモチベーションを損ねるものであります。製薬協はイノベーション推進の観点から品目要件・企業要件の改善を主張しましたが、2020 年度制度改革では一部の実現に留まりました。また、2022 年度には、品目要件に「効能・効果等の追加に係る評価」が加えられ、イノベーションを推進する仕組みとして一定の改善が図られました。

新薬創出を加速するとともにドラッグ・ラグを解消し、イノベーションの推進と医療の質の向上を実現するためには、引き続き更なる改善に向けた検討が行われることが重要であり、業界としてもその議論に参画できるよう要請していきます。

2-20 見直し後の新薬創出等加算制度



●出典：厚生労働省「令和４年度薬価基準改定の概要」（2022 年 3 月 4 日）

長期収載品の薬価等の見直しについて

長期収載品とは、既に特許期間が切れ、ジェネリック医薬品（後発医薬品）が発売されている医薬品のことです。薬価基準に長期間収載されていることからこのように呼ばれています。

厚生労働省は、医療保険財政の改善に向け、ジェネリック医薬品の使用促進を進めており、先発医薬品からジェネリック医薬品への置き換えが国内で進んでいます。

2018 年の薬価改定においては、後発品への置き換えが進まない先発医薬品について、大幅な価格引き下げの仕組みが導入されました。2020 年、2022 年の改定でも一部見直しが行われています（**2-21、2-22**）。

製薬産業としては経営安定性の見地から、このような長期収載品の価格引き下げの仕組みは、特許期間中の先発医薬品の薬価維持の仕組みとセットで検討されることが望ましいと考えています。

2-21 後発品への置き換えが進まない先発品の特例引き下げ

最初の後発品収載から 5 年を経過し、10 年を経過しないもののうち、後発品への置き換え率 80%未満となる先発品（希少疾病用医薬品等を除く）について、市場実勢価格に基づく算定値から次の率を引き下げ。

［後発品置き換え率］	［引き下げ率］
・60% 未満	2.0%
・60% 以上 80% 未満	1.75%

1. 後発品への置き換えが進まない先発品の薬価の引き下げ（Z2）の対象

	後発品置き換え率		合計
	60%未満	60%以上 80%未満	
成分数	30 成分	28 成分	58 成分
品目数	66 品目	71 品目	137 品目

2. 後発品収載後 10 年を経過した長期収載品の後発品価格の引き下げ（G1/G2/C）の対象

区分			成分数	品目数
G1（前倒しの対象も含む）			109 成分（18 成分※）	267 品目（53 品目※）
G2（前倒しの対象も含む）			104 成分（1 成分※）	192 品目（9 品目※）
C	後発品置き換え率	60%未満	139 成分	319 品目
		60%以上 80%未満	133 成分	223 品目
	C 計		252 成分	542 品目
合計			465 成分	1,001 品目

※ G1 ／ G2 前倒しの対象となったものの内数

3. 令和 2 年度または令和 4 年度改定で後発品置き換え率 80%を超えた品目 (2. を除く)：23 成分 59 品目

注：表中の品目数は告示上の数で示している

●出典：厚生労働省「令和 4 年度薬価基準改定の概要」(2022 年 3 月 4 日)

2-22 薬価基準収載品目の分類別割合

分類		品目数	全体に対する薬価ベース割合	全体に対する数量割合
先発医薬品	後発医薬品なし	2,363	59.9%	15.1%
	後発医薬品あり	1,721	16.5%	14.3%
後発医薬品		6,171	16.8%	50.3%
その他の品目		3,115	6.8%	20.2%

※ 1：「その他の品目」とは、局方品、漢方エキス剤、生薬、生物製剤（ワクチン、血液製剤など）および承認が 1967 年以前の医薬品などをいう。
※ 2：品目数は 2022 年 4 月時点、乖離率、全体に対する薬価ベース割合、全体に対する数量割合及び後発医薬品の数量割合は 2021 年 9 月調査時の数量および薬価による。
※ 3：後発医薬品の数量割合「-」は、診療報酬上の加算などの対象となる後発医薬品がない項目となる。
※ 4：数値は小数点第二位を四捨五入しているため、割合の合計は必ずしも 100.0% とはならない。
※ 5：乖離率、全体に対する薬価ベース割合、全体に対する数量割合および後発医薬品の数量割合の算出に当たり、医薬品卸売販売業者 6 社から独立行政法人国立病院機構など（九州地区）への販売データについては、念のため、除外して算出している。

●出典：厚生労働省「令和 4 年度薬価基準改定の概要」(2022 年 3 月 4 日)

Ⅲ 製薬産業

1. 製薬産業の貢献と挑戦

医薬品は人のいのちに直接関わるものであり、その有効性や安全性の確保が不可欠です。こうした医薬品の特性から、医薬品医療機器等法をはじめとした各種の厳格な法的規制により、さまざまな基準が定められており、製薬産業は、他の産業とは異なる性格と使命・役割を持つ産業といえます（3-1）。

私たちの目標は、優れた医薬品の継続的な研究開発と安定的な供給を通して『世界の人々の健康と福祉の向上に貢献する』ことです。そのために私たちは、目覚ましい発展を遂げる生命科学に対する真摯であくなき探求や、高い倫理性に基づいた企業行動など「生命関連産業としての使命」を果たすとともに、多岐にわたる課題の解決に取り組んでいます。

そして、製薬産業は、患者さんのニーズを踏まえた革新的な医薬品の創出による「健康長寿社会の実現」はもとより、新薬の研究開発活動を維持・活性化するために確保した収益により、安定した担税力や投資の拡大といった面から「経済成長への寄与」が期待されています。また、精力的な研究開発活動の過程における産・学・官連携の推進や先端分野への挑戦などにより、「科学技術の発展・波及」への貢献も期待されています。

こうした製薬産業としての貢献は、全世界への優れた新薬の展開や数少ない新薬創出国としてのリーダーシップの発揮など「グローバルヘルスへの寄与」といった形で、日本のみならず世界の成長・発展を牽引するものとしても大きな期待が寄せられています。

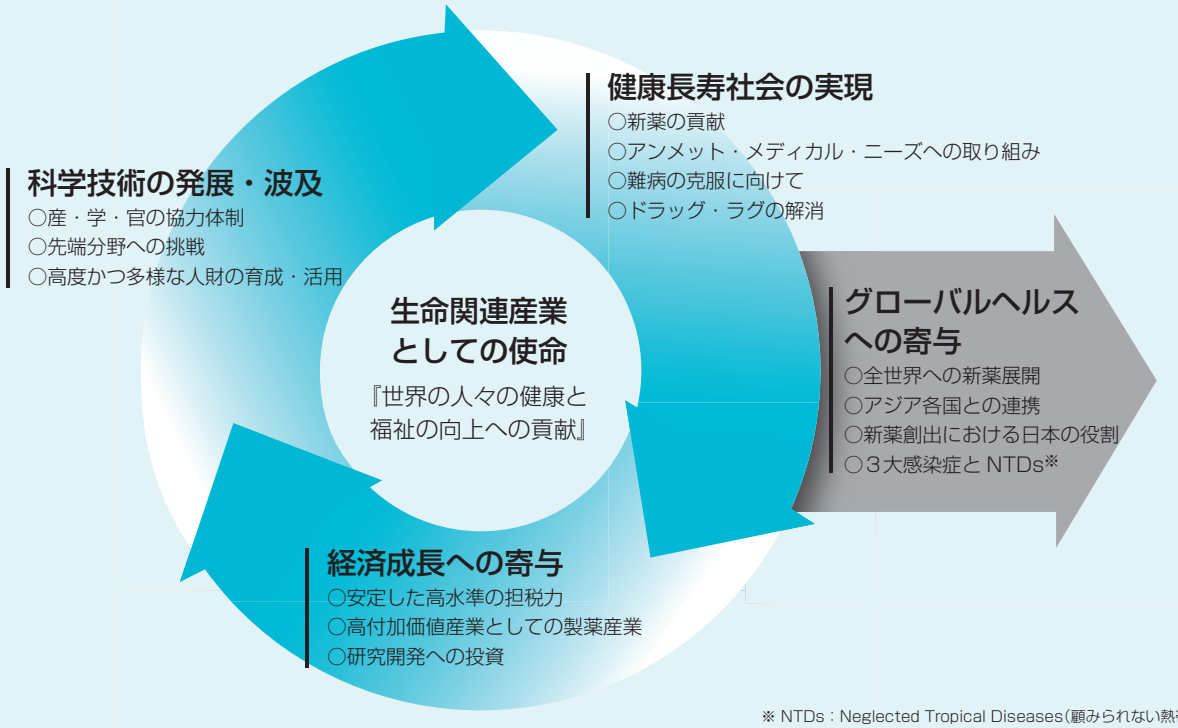
この製薬産業の重要な役割を踏まえて、製薬協では、優れた新薬の創製と製薬産業の発展をさまざまな活動を通じてサポートするとともに、医薬品と製薬産業へのより正しい理解を得るための活動を展開しています。

（1）コンプライアンスに関する取り組み

製薬協会員各社は、革新的で有用性が高く、より安全な医薬品の開発を通じて、わが国のみならず世界の人びとの健康と福祉の向上に貢献することを使命としています。このため、会員各社は適切な産学連携のもと、研究者、医療関係者、患者団体などと相互の信頼関係を構築し、倫理的で患者さんの立場に立った最適な医療が行われるように努めることが求められています。

製薬協は、医療用医薬品のプロモーション活動にあたって、不適切な処方誘引を招かないよう、1976年に「医療用医薬品のプロモーションに関する倫理コード」を策定しました。その後、1993年3月に、国際製薬団体連合会（以下、IFPMA）の

3-1 製薬産業の貢献と挑戦



※ NTDs：Neglected Tropical Diseases（顧みられない熱帯病）

「IFPMA 医薬品マーケティングコード」にも準拠した、より発展した「医療用医薬品プロモーションコード」を策定し、以降、法改正への対応など数回の改定を行ってきました。

また、プロモーション活動に限らず企業活動全般にわたって高い倫理性を確保するため、1997 年 11 月に「製薬協企業行動憲章」を会員各社の自主規範として策定し、2001 年 4 月には会員各社の法令遵守の徹底をより図るため「製薬協コンプライアンス・プログラム・ガイドライン」を指針として示しました。その後も時代の変化に合わせ、2011 年 3 月、2018 年 10 月に改定を行っています。

このように、製薬協としては、会員各社がより高い倫理性、透明性を確保し、製薬産業全体の信頼を高めることに努めてきたところですが、2012 年 3 月の「IFPMA コード・オブ・プラクティス」の発表を機に、これまでの「医療用医薬品プロモーションコード」をさらに発展させ、会員各社のすべての役員・従業員と、研究者、医療関係者、患者団体などとの交流を対象とした「製薬協コード・オブ・プラクティス」を 2013 年 1 月に策定し、同年 4 月から実施しました。その後 2017 年 10 月には、IFPMA コード・オブ・プラクティスとの整合性を図ることや、関連法規の名称変更、プロモーションの定義を再徹底することを目的に改定を行いました。また、2018 年 11 月にも IFPMA コード・オブ・プラクティスの改定を受け、さらに 2019 年 9 月には「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドライン」の適用を受け、改定を行ってきました。

さらに、利益相反問題も含め、製薬企業から医療関係者、医療機関などへの金銭支払いなどについて情報公開を行い適切な説明責任を果たすため、2011 年 1 月「企業活動と医療機関等の関係の透明性ガイドライン」を策定しました。会員各社はこのガイドラインに基づく自社の指針により、医療関係者、医療機関などの同意のもと、2013 年度から情報公開を始めています。同じく患者団体との関係についても 2012 年 3 月「企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン」を策定し、2014 年度から情報を公開しています。

一方、高血圧症治療薬の臨床研究事案に端を発した、臨床研究への不適切な関与問題に対して、2014 年 4 月 22 日には、自社医薬品に関する臨床研究に対する支援は、契約により実施することなどの「臨床研究への支援の在り方に関する基本的考え方」を示し、会員各社へ通知、徹底しました。この通知は、2018 年 4 月の臨床研究法の施行に伴い、見直しを行いました。

同様に、臨床研究法の施行を受け、2018 年 9 月には「企業活動と医療機関等の関係の透明性ガイドライン」を改定し、情報を公開しています（最新版 2022 年 1 月改定）。

また、これらに関連して 2015 年度には、特にプロモーション印刷物および広告などの資材について、会員各社の審査体制をさらに強化することや、資材作成における自主基準である作成要領の大幅改訂に取り組み、製薬協としても資材の審査範囲を拡大し審査体制強化を行いました。さらに 2019 年 4 月には医療用医薬品の添付文書などの記載要領の改定や、医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドラインにも対応し、医療用医薬品の広告活動監視モニター事業（現・販売情報提供活動監視事業）での指摘事例などを参考に作成要領の改訂を行い、資材作成のよりいっそうのルールの明確化を行っています。

（2）医薬品の多様な価値

日本は少子高齢化に直面しており、社会保障制度における「支える側」の減少が続いています。そのような中で、医薬品には病気の治療という本来の役割に加え、健康寿命を延伸させ、支える側を増やすといった、広い意味での社会的価値に対する貢献が期待されています。

具体的には、病気の治癒および症状の改善による患者さんやその家族の QOL 向上、介護負担の軽減、労働生産性の向上、社会復帰への貢献などが挙げられます。他にも、国民全体の健康寿命が延伸することで、医療負荷（医療従事者の業務負担）の軽減や、税収の増加、社会保障費の抑制など、社会全体へ多様な価値をもたらすと考えられています。

一方、昨今は分子標的薬など画期的な新薬の価格が非常に高額となるケースがあり、世界的にも議論を呼びました。医薬品の価値と価格に関しては、財政面だけでなくさまざまなデータを多面的に分析することで、本当に必要とする患者さんに適切な価格で届けるための法整備が望まれています。

製薬産業には革新的な医薬品を創出し続け、患者さんにいち早く届けることが求められています。医薬品は開発に携わる人々のイノベーションと努力の結晶であり、その多様な価値が適切に評価されることは、私たちの社会において新薬が持続的

に創出されるために極めて重要です。

今般の新型コロナウイルス感染症の世界的な流行に伴い、医療の提供には限界があり、また有効な治療法がないことで人々の生活や生産活動が多大な影響を被ることを多くの人々が認識しました。医薬品が有する多様な価値は、各時代における疾患の動向や社会情勢、科学技術の進歩により変化し続けていきます。今後も患者さんや国民にとって何が重要な価値となるのかを見定め、データ収集や分析に基づき、医薬品の新たな価値の議論が深まることが期待されます。

(3) 医薬品の進歩

医薬品は20世紀後半から著しい進歩を遂げ、アンメット・メディカル・ニーズと呼ばれる、いまだ有効な治療方法がない疾患への医療ニーズを満たし、多くの病気から患者さんを救うために医療の場で役立ってきました。

例えば、治療法もなく死亡率の高かった結核をはじめとする細菌感染症などの治療薬が開発され、手術が必要とされた胃潰瘍などの疾病を投薬だけで治癒できるようにするなど、簡便な治療法が確立されました。さらに、高血圧症や糖尿病などの

医薬品の流通

●厳しく管理された物流体制

医薬品の物流とは、製薬企業で生産された医薬品が卸売業者を経由して、医療機関や保険薬局に届けられるまでの経路のことを指します（**3-2**）。医薬品は生命の維持・救済に強く関わるため、製造から流通まで厳しい管理のもとに置かれます。

まず製造にあたっては、GMP（医薬品の製造管理及び品質管理に関する基準）が定められており、それに基づき製造され規定された品質の医薬品が出荷されます。医薬品の品質維持に関しては、流通段階においても細心の注意が必要です。医薬品の中には温度・湿度・光の影響を受けやすいものも少なくありません。そのため、医薬品の保管・出庫・配送にあたっては、JGSP（医薬品供給における品質管理と安全管理に関する実践規範）が定められ、品質が損なわれないように貯蔵法の指定や保冷庫による輸送など細かい点に至るまで注意が払われます。

こうして品質・有効性・安全性が確保された医薬品が、全国179,000以上の医療機関や58,000店以上の保険薬局などへ卸売業者を通じて届けられます。

●卸売業営業担当者の業務

卸売業の営業担当者はMS（Marketing Specialist）と呼ばれ、医療機関や保険薬局などを訪れて情報活動と販売活動を行います。医療機関や保険薬局は、各製薬企業のMRから医薬品情報を得たうえで、各卸売業のMSと価格交渉を行い、必要な医薬品を購入します。

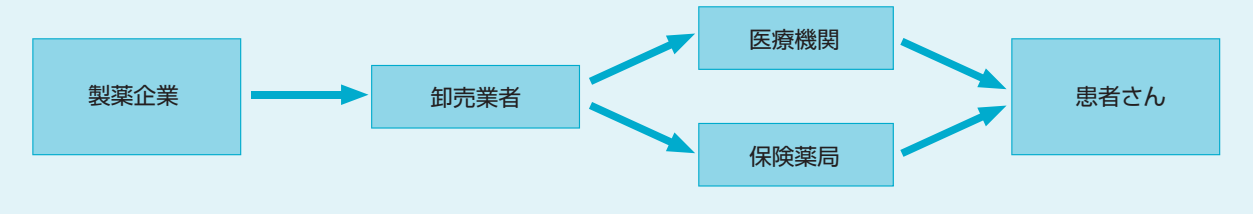
また、新たな協力関係として、2005年4月から全面施行された改正薬事法に基づいて、「製造販売業者が製造販売後安全管理に係る業務を委託することができる範囲」などが新たに規定されたことで、製造販売後の安全性に関わる情報提供機能などをMSが補完する協力体制が加わりました。

●流通改善ガイドライン

薬価基準に収載されている医療用医薬品については、価格が公定（薬価）されていますが、医薬品メーカーから卸売業者を経由して医療機関・保険薬局に納入されるまでは自由価格とされています。そのような特殊性から生じている流通上の問題を改善するため、厚生労働省は2018年1月に「医療用医薬品の流通改善に向けて流通関係者が遵守すべきガイドライン」（GL）を、関係団体に通知しました。

「頻繁な価格交渉」「医薬品の価値を無視した過大な値引き交渉の是正」「返品の扱い」など、関係者が留意すべき事項を具体的に指摘しています。さらに、ガイドラインの実効性を担保するため、厚生労働省に相談窓口を設置し、事例の公表、ヒアリングなどを実施するなどの関与を行うとしています。当ガイドラインは2021年11月に改訂が行われました。改訂ガイドラインでは「割戻し・アローアンスの整理・縮小」「不当廉売の禁止」などが明記されています。

3-2 医療用医薬品流通の基本的な仕組み



慢性疾患をコントロールする医薬品も開発され、がんやリウマチに対しては、従来の治療法と比較して格段の有効性を示す抗体医薬品が出現しました。この抗体医薬品は副作用も少ないとされ、リウマチ以外の自己免疫疾患（異物を排除する免疫が正常な細胞に作用してしまう病気）への応用も期待されています。

3-3 は、各種疾患の治療の満足度と薬剤の貢献度について医師にアンケートを行ったものです。全体として、医薬品の貢献度が高い疾患では、治療の満足度も高い傾向にあり、アンメット・メディカル・ニーズと医薬品の貢献度は密接な関係にあることがわかります。2000 年度と 2019 年度を比較すると、2019 年度は、がん以外 6 疾患、がん 7 疾患のいずれも全体が右上に移動しており、治療の満足度・薬剤の貢献度とも向上していることがわかります。かつては左下に位置していた慢性 C 型肝炎、HIV・エイズなどの感染症や、生産性損失が大きいとされるがん、関節リウマチの治療満足度は飛躍的に高まっています。こうした医薬品の進歩に、医療技術の進展や環境衛生、食生活の改善などが加わって、日本の平均余命は飛躍的に伸びました。

同様に開発が期待されているものにオーファン・ドラッグ（希少疾病用医薬品）があります。代替医薬品や治療法がないなど、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことからその治療に関する研究が十分に進んでいない疾患の治療薬のことです。製薬産業は社会的使命から、オーファン・ドラッグの研究開発を振興する公的援助制度のもと、希少疾病に苦しむ患者さんのための医薬品開発に取り組んでいます。

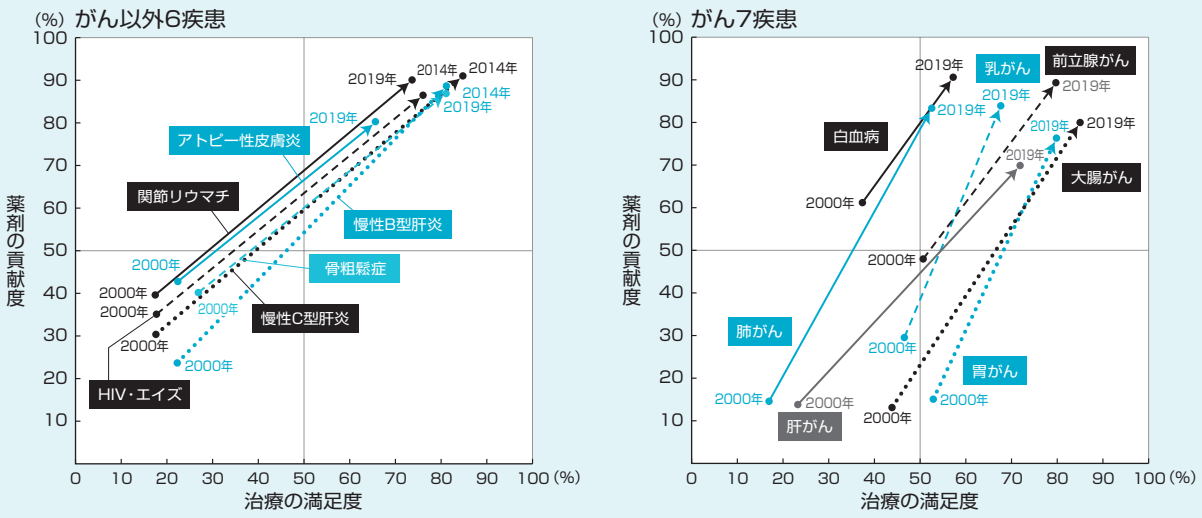
また、近年のヒト遺伝子の解読で得られた塩基配列情報を基に、ヒト遺伝暗号の意味やその役割に関する研究が世界的に進められています。これにより、これまで原因不明だった病気の発症や進行のメカニズムが解明される可能性が高く、社会的にも大きな期待を集めています。

新たに解明された遺伝子の働きや病気の発症メカニズムからヒントを得て、治療薬開発に向けた研究を開始し、これまで治療薬のなかった病気や、対症療法に頼らざるを得なかった病気などに対して、画期的な治療薬を創出することを目指した研究が行われています。

さらに、個人の遺伝子情報に基づいたプレシジョン・メディシン*（精密医療）も検討されています。これは個人の遺伝子情報を基に患者さんに合った治療薬や、その投与量などを決めるものです。最近では、病気の原因となっている遺伝子を標的にした遺伝子治療といった手法が開発され、遺伝病に対する根治療法として注目を集めています。

こうした研究開発を効率的に進めるためには、人工知能（AI）を用いた AI 創薬が貢献できると考えられています。AI 技術は、標的分子に最適な化合物の選定や薬効・薬物動態の予測、予後を規定するバイオマーカーの特定、臨床試験による病理データの解析など、創薬におけるすべての段階に応用が可能です。これまで人間が行ってきた膨大な解析を機械的に行うだけでなく、結果全体の評価・解析を AI が支援することで、創薬の過程が一気に加速することが期待されています。

3-3 治療満足度と薬剤貢献度の変化（2000年→2019年）



注：HIV・エイズ、慢性 C 型肝炎、および慢性 B 型肝炎は 2019 年の調査対象疾患から除外されたため 2014 年のデータを採用

●出所：公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団 平成 12、17、22、26 年度、および 2019 年度国内基盤技術調査報告書を基に医薬産業政策研究所にて作成

オーファン・ドラッグ

オーファン・ドラッグは、希少疾病用医薬品とも呼ばれ、患者数が少なく治療法も確立されていない難病といわれる病気に使うくすりのことです。

患者数が少ない病気であっても、くすりの重要性に変わりはありません。一方、研究開発の面からみると、くすりとしての有効性がある程度判明していても、患者数が少ないオーファン・ドラッグは本格的な治験が進まない傾向が世界的にありました。このような課題を解決するために、1970～80年代にかけて、先進諸国を中心にオーファン・ドラッグの研究開発に対する公的援助制度を作る動きがみられるようになり、米国では1983年にオーファン・ドラッグ法が制定されました。

日本では、1979年に難病に対する新薬研究開発事業がスタートし、1985年には承認審査の簡素化、さらに1993年の薬事法の改正によってオーファン・ドラッグに対する本格的な公的研究開発援助制度が始まりました。

オーファン・ドラッグに指定されると、研究開発のための助成金が交付されるほか、ほかのくすりに優先して承認審査が行われるなど、各種の措置が受けられます。こうした制度上の支援策により、従来よりもオーファン・ドラッグの研究開発が行いやすくなり、患者さんの数が日本全国でわずか数人程度の難病のくすりも開発されるようになりました。毎年新たにオーファン・ドラッグは追加されており、現在の希少疾病用医薬品の指定品目数は約570となっています(2022年8月5日現在※)。

※：国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所「希少疾病用医薬品指定品目一覧表」より

●オーファン・ドラッグの指定基準※

(1) 対象者数：当該医薬品、医療機器又は再生医療等製品の用途に係る対象者の数が、本邦において5万人未満であること。ただし、その用途が指定難病の場合は、難病の患者に対する医療等に関する法律（難病法）第5条第1項に規定する人数（人口のおおむね千分の一程度）までの対象者数の範囲とする。

(2) 医療上の必要性：重篤な疾病を対象とするとともに、次のいずれかに該当するなど、特に医療上の必要性が高いものであること。

・代替する適切な医薬品・医療機器・再生医療等製品又は治療法がないこと。

・既存の医薬品・医療機器・再生医療等製品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること。

(3) 開発の可能性：対象疾病に対して当該医薬品、医療機器又は再生医療等製品を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められること。

※：厚生労働省「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要」より

プレシジョン・メディシン

がん治療の現場で急速な進化を遂げている「がんゲノム医療」。がん患者の遺伝子情報を解析し、がんの発症と関係のある遺伝子情報に基づいて治療や予防など最適な医療を提供します。「プレシジョン・メディシン」という概念で、日本語で「精密医療」と呼ばれています。

遺伝子に異常が起きて、細胞ががん化すると、正常に機能しなくなり増殖、転移します。近年、遺伝子変異についての解明が進み、それを標的にして働きを制御し、がんの増殖、転移を抑える「分子標的薬」が次々と開発されています。

先駆けとなったのが肺がん治療薬のゲフィチニブです。「EGFR」という遺伝子に変異のあるタイプのがんに高い効果を発揮します。肺がんは、がんゲノム医療の取り組みが最も進んでいるがんのひとつで、「ALK融合遺伝子」「ROS1融合遺伝子」を標的にした医薬品も登場しています。

遺伝子変異の有無を調べ、薬剤使用の可否を判定する「コンパニオン診断薬」も保険適用になっています。ただし、従来の検査では、1回の検査で調べられるのはひとつの遺伝子に限られました。そのため、例えば肺がんであれば、EGFR遺伝子の変異を調べて変異が見つからなければ別の遺伝子での変異を探すというように、段階的な複数の検査が必要となり、最適な治療薬にたどり着くまでに手間と時間がかかることが課題でした。

そこで、がんとの関連が明らかになっている多数の遺伝子を選び出し、一度にまとめて検査を行う「遺伝子パネル検査」が実用化され、2019年6月から健康保険の適用も始まっています。ただし現状では、健康保険が適用される患者さんは、標準治療がない、または標準治療が終了したがん患者さんに限られ、そのため遺伝子変異に対応した治療薬が見つかり、治療につながったケースは1割程度といわれています。

がんゲノム医療の進化形として注目を集めているのが「リキッド・バイオプシー」です。現在の主流である患者さんの体から切除したがん組織を調べる手法とは異なり、がん組織から血液中に漏れ出てくるがん由来の遺伝子異常などを調べて診断、治療法の選択、治療効果の予測を行う手法です。血液から遺伝子を検出するキットがすでに承認され保険診療で使用されており、簡便で患者さんに負担の少ない検査法として実用化が始まっています。

さらにはヒトの全ゲノムの塩基配列を網羅的に解析する「全ゲノム解析等実行計画」が進められようとしています。これにより、がんの本態解明や新たな治療薬の標的が見つかることが期待されます。

(4) 国際貢献 / グローバルヘルス

「地球規模で存在する保健医療問題についてその実態を明らかにして解決方法を探り、開発途上国、先進国を問わず国境を越えて健康格差を是正しようとする考え方」をグローバルヘルスと呼び、世界各国の政府、業界、学会、NGO/NPO が協力し、解決しようとしています。

エボラ出血熱、デング熱、MERS（中東呼吸器症候群）、ジカ熱など、日本でも問題になった感染症や、開発途上国のみならず先進諸国でも問題となっている新型コロナウイルス感染症に代表される新興・再興感染症や薬剤耐性菌問題は一地域だけの問題ではありません。また、がんや糖尿病をはじめとする生活習慣病といわれる病気などの非感染性疾患（NCDs：Non-Communicable Diseases）も先進国だけの問題ではありません。さらに世界を見れば、医薬品を含む医療へのアクセスが十分でない地域も多数存在しており、これら地域での保健医療の改善を目指すグローバルヘルスへの取り組みは、国連の SDGs（Sustainable Development Goals/持続可能な開発目標）でも課題としており、世界各国ならびに国際機関の重要課題となっています。

開発途上国の貧困層で蔓延している疾患の新薬開発は進んでいるとはいえません。この課題に取り組むためには、時間とコストの問題のみならず、新薬創出を加速させる環境整備や新薬開発のためのパートナーシップへの参画などの活動が必要であると考えられています。

●感染性疾患

WHO によると、HIV・エイズ、結核、マラリア、ならびに顧みられない熱帯病（NTDs：Neglected Tropical Diseases）は世界で 10 億人を超える患者さんがいると推測されており、その多くが発展途上国あるいは貧困層に集中しています。また、現在全世界で蔓延している新型コロナウイルスの感染者数は、5 億 9,000 万人を超え、死亡者数は 640 万人を超えています（2022 年 8 月 22 日現在）。特に、これら感染症は貧困層で蔓延していく一方、多くの国や地域で貧困の原因ともなっています。この貧困と感染症の負の連鎖を断ち切ることは、感染流行国の経済成長とともに世界情勢の安定化に必要です。これらの課題解決のためには、感染流行国における保健医療システムや医療保険制度などの医療基盤の強化、必要な医薬品・ワクチンを確実に患者さんに届けるための流通システムの整備、患者さんへの啓蒙活動、さらにはこれらの疾患を対象とする新薬・ワクチンの創出を加速させる環境整備など、さまざまな対策が求められます。これらを推進するにあたり、製薬産業を含めた官民パートナーシップをはじめ、世界の保健医療の改善に携わるあらゆるステークホルダーズの協働を通じた柔軟な対応が求められています。

以前から国連、WHO でも重要課題の一つになっているのが薬剤耐性（AMR）です。本来効くはずの抗菌薬が効かない薬剤耐性菌が増加し、世界的な脅威となっています。製薬産業は、新薬開発への取り組みに加え、薬剤耐性菌を増やさない、減らすための活動も行っています。また、 2020 年 7 月に、世界の製薬企業 23 社が協働して立ち上げた AMR Action Fund は、バイオベンチャー企業への投資のみならず、業界が有するリソースや専門的な知識・技術の提供により、新規抗菌薬の研究開発を強化・加速し、早期に製品化（10 年後までに 2 ～ 4 剤）することを目指しています。

●非感染性疾患
（NCDs：Non-Communicable Diseases）

感染性疾患のみならず、循環器疾患・がん・糖尿病・慢性呼吸器疾患に代表される NCDs もグローバルヘルスの対象疾患です。

低・中所得国では、NCDs により、多くの人々が経済的に最も生産性の高い時期に死亡したり、障害を負ったりしています。さらには、公的医療保険制度や医療インフラが未整備の国あるいは地域も多く、医薬品の製造、品質管理、物流などに関わる人材不足、偽造医薬品の横行、貧困などさまざまな要因により、医薬品へのアクセスが阻害されています。アクセス・アクセラレート（Access Accelerate）という活動は、低・中所得国における NCDs の疾病負荷の増加に対応するために 2017 年に設立された官民連携の取り組みで、世界銀行や国際 NGO などとの協働により、「2030 年までに NCDs に起因する早期死亡を、予防、治療、ケアへのアクセス改善を通じて、3 分の 1 減少させる」という SDGs 目標（3. すべての人に健康と福祉を）の達成に向けて取り組んでいます。

薬剤耐性（AMR）

抗菌薬の不適切な使用などに伴う薬剤耐性（AMR：Antimicrobial Resistance）が、世界の医療における深刻な脅威となっています。最近の報告では、2019 年の AMR 関連死（薬剤耐性菌に感染したことにより原疾患が悪化した結果としての死亡）は全世界で 495 万人でした。これは、世界の死因第 1 位の虚血性心疾患、第 2 位の脳卒中に次ぐ数字です。さらに AMR 起因死（AMR が直接の原因となった死亡）は 127 万人と推定されており、ヒト免疫不全ウイルス（HIV）感染症やマラリアによる死亡者数を上回りました[注1]。

AMR は日本でも大きな問題となっており、AMR 菌による菌血症の死亡者数（推計）が発表されています。それによると、メチシリン耐性黄色ブドウ球菌菌血症による死亡は 4,224 人、フルオロキノロン耐性大腸菌菌血症による死亡は 3,915 人と算出されました[注2]。交通事故による日本の年間死亡者数は 3,000 人強ですから、その倍以上の人が AMR 菌による菌血症で亡くなっているということです。

こうした AMR の問題に対し、世界保健機関（WHO）は 2015 年の総会で「AMR に関する国際行動計画」を採択しました。これを受けて、日本でも 2016 年、AMR の①普及啓発・教育、②動向調査・監視、③感染予防・管理、④抗微生物剤の適正使用、⑤研究開発・創薬、⑥国際協力―を柱とする「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」が定められました。

同時に 2016 ～ 20 年の 5 年間の成果指標として、2020 年の抗微生物剤使用量（人口千人 1 日当たり）を全体で 33%（2013 年比）、経口セファロスポリン・フルオロキノロン・マクロライド系薬をそれぞれ 50%、静注抗菌薬を 20%減らすことを打ち出しました。薬剤耐性率に関しては、黄色ブドウ球菌のメチシリン耐性率を 2013 年の 51%から 2020 年には 20%以下に、大腸菌のフルオロキノロン耐性率を 36%から 25%以下に、緑膿菌のカルバペネム耐性率を 17%から 10%以下にするといった目標を掲げました。

では、この目標は実現されたのでしょうか。厚生労働省の「薬剤耐性ワンヘルス動向調査年次報告書 2021」によると、2020 年の抗菌薬使用量は目標値に及ばなかったものの、2013 年より 30%減を達成しました。経口セファロスポリンは 43%減、経口フルオロキノロンは 41%減、経口マクロライドは 39%減とそれぞれ大幅に減りましたが、静注抗菌薬に関しては 1.1%の微減にとどまりました。これには診療所外来での内服抗菌薬処方の減少が寄与していると考えられますが、2020 年来の新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の流行は他の感染症の減少や受診機会の激減を引き起こしており、結論を出すのは時期尚早といえそうです。

耐性率については、2020 年における黄色ブドウ球菌のメチシリン耐性率は 48%、大腸菌のフルオロキノロン耐性率は 41%、緑膿菌のカルバペネム耐性率は 16%と、大きな改善は得られませんでした。これらの結果を受け、厚生労働省は「さらなる AMR 対策の推進が必要である」とし、2022 年度内に「薬剤耐性（AMR）アクションプラン」の改訂を予定しています。

製薬協では、同アクションプランの柱である①普及啓発・教育、②抗微生物剤の適正使用、③研究開発・創薬―の 3 項目に積極的に取組んでいます。特に薬剤耐性菌に有効な新規の抗菌薬創製を促進するためのインセンティブ制度の導入には力を入れており、関係省庁への働きかけを継続的に行っています。

注 1：Antimicrobial Resistance Collaborators. *Lancet* 2022; 399: 629-655.　注 2：Tsuzuki S, et al. *J Infect Chemother* 2020; 26: 367-371.

（5）患者参加型医療

2003 年に福岡で開催された第 26 回日本医学会総会で「21 世紀にめざす理想の医療は、心を持った人間を見失うことのない、生命の尊重と個人の尊厳に基づく患者中心の医療である」とうたった「福岡宣言」が採択されました。その背景にあるのは、これまでの「おまかせ」医療から患者さん本位の「選択できる」医療の実現に向けて、医療提供者、国民がともに努力しなければならない、という考え方です。

製薬協では「患者参加型医療の実現」を掲げ、「福岡宣言」の実現に寄与していくよう努めています。

そのためには、医師をはじめとする医療提供者には、患者さんが自ら治療方法の選択や判断をするための情報をわかりやすく伝えることが求められます。その情報とは、①診断の結果、明らかになった病名、②治療の方法とその成功確率、リスクの程度、予後に及ぼす影響、③他の治療方法を選択する可能性とその内容、などが挙げられます。

患者さんが医師と対等な関係の中で、十分な説明を聞き、納得して治療を受けるというインフォームド・コンセントの概念は、このような考え方に基づいています。

患者参加型医療の実現に向けて、製薬産業では医薬品に対する患者さんの関心の高まりとともに、医薬品の有効性や安全性に関してより詳しい情報を求める声に応える必要性が増しています。本来医療用医薬品は医療提供者から患者さんに提供さ

れることが原則であり、製薬企業から直接患者さんならびに国民に対する医療用医薬品の広告については、薬機法および医薬品等適正広告基準で制限されています。

しかし、現在ではインターネットなどを通じて容易に医薬品情報を入手できるようになっています。それだけに製薬企業は、医薬品の適正使用、特に安全性についての情報を医療提供者のみならず患者さんなどの求めに応じて科学的根拠に基づいた情報を提供することが強く求められています。

製薬協は、患者参加型医療の実現に向けて製薬企業による医薬品の適正使用情報提供のあり方について、患者団体などの意見を踏まえ検討を続けていきたいと考えています。これまで以上に、患者団体などを対象に、患者団体活動に役立つ情報提供のためのセミナーを実施するなど、患者団体とのより良い協働のあり方を求め、コミュニケーション活動を積極的に展開しています。また、製薬協のウェブサイトには、医療用医薬品に関するさまざまな情報をはじめ、医薬品の研究・開発に関する情報を掲載し、患者さんはもちろん、広く国民に対して、医療用医薬品に関する理解をより深めていただくための情報提供に努めています。

研究への患者・市民参画（PPI）

Patient and Public Involvement（PPI）は、研究者が医学研究･臨床試験を進めるうえで、患者･市民の意見を聞きながら、ともに研究をデザインしていく手法です。PPI の普及に取り組んでいる国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）では、PPI を「医学研究･臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者･市民の知見を参考にすること」と定義しています。ここでの「患者・市民」は、患者さん、ご家族、元患者さん（サバイバー）、未来の患者さんが想定されています。PPI が進展することで、患者さんにとってより有用な研究成果の創出、医学研究・臨床試験の円滑な実施、被験者のリスク低減などが期待されています。

研究者と患者・市民における PPI の意義について、AMED では以下の内容を挙げています。

＜研究者にとっての意義＞

・研究開発を進めるうえでの新たな視点と価値を発見（獲得）できる

・患者さんの不安・疑問点を解消し、医学研究・臨床試験の理解を促進できる

＜患者さんにとっての意義＞

・医学研究・臨床試験の参加者にとって利便性を向上、理解を促進できる（負担の少ない実施体制になる）

・患者・市民にとって研究が身近になり、医療に対する関心を高めることができる

現在、日本には研究者と患者・市民をマッチングさせる仕組みがありません。他方、欧米では研究者が求める患者・市民の条件を募集要項で示し、コーディネーターが双方の調整を行う取り組みが実施されています。たとえば PPI に先進的に取り組んでいるイギリスでは、研究者が患者・市民の協力者を募集し、関心を寄せた人が登録できるウェブサイトがあります。また研究者向けの研修も整備されつつあり、効果的な実施方法、公的研究機関から受けられる支援策のほか、患者・市民参画の評価方法を学んだり、実際に行ったりするワークショップなども準備されています。日本ではまだこうした体制が整っていませんが、今後、研究者と患者・市民の双方が PPI について理解を深めていくことが期待されます。

PPI をはじめとして、研究者と患者・市民は、将来のより良い医療の実現に向け協働することが期待されています。ただし、双方はその役割が異なる点に注意することも重要です。たとえば、患者・市民が研究者に過大な要求をすることは好ましくありませんし、研究者が患者･市民に多大な謝礼を支払うことも慎むべきです。双方が適切な距離を保ちつつ、尊重し合って協力することが大切です。

2. 日本の製薬産業の概況

製薬産業は、わが国で今後も成長が期待できる産業のひとつであり、医療の進歩への貢献のみならず納税の面でも多大な貢献をしています。

しかしながら、日本の製薬産業を取り巻く経営環境は、医療保険制度の持続性に関わる観点などから厳しい状況を迎えています。現在、国内における医薬品市場の伸びは世界全体の伸びと比較すると鈍化傾向にあります。また、ジェネリック医薬品のシェアは国による使用拡大策などもあり、急速に拡大してきました。他方、研究開発型製薬産業を巡る環境は、グローバル化、業界再編、新薬開発コストの増大など、ダイナミックにかつ目まぐるしく変化しています。

世界の医薬品市場に目を向けると、先進諸国の共通の課題である医療費の持続性の観点から、これまで医薬品市場を牽引していた米国の成長率が鈍化しています。一方、中国、インドなど新興国での成長には著しいものが見られています。

その中にあって、日本の製薬産業は、世界に誇ることのできる研究開発技術力・新薬創出力をさらに強化し、新たな治療法を切り開く画期的新薬開発の促進を目指しています。

(1) 製薬産業の現状

日本の製薬企業で、研究開発志向型製薬企業である製薬協会員会社は71社です(2022年10月現在)。

現在日本では、世界一の国民皆保険制度といわれる医療保険制度を維持するため、医療費の削減の中で特に薬価削減に偏った政策が相次いで実施されています。製薬産業を取り巻く環境変化としては、①バイオ・ゲノムなど科学技術の進歩による新薬開発の世界的競争激化と研究開発費の高騰、②国際的な規制の整合性確保のための薬事制度の整備、③市販後対策の高度化、④医療費抑制のための継続的な薬価引き下げなど、多様なことが挙げられます。

そのため製薬企業は、研究開発へのいっそうの注力による革新的な新薬の創製や高品質の医薬品の安定供給、信頼性の高い学術情報の収集・提供を行っています。さらに、国際市場においても海外企業とグローバルに競争できる研究開発力と経営基盤の確立を目指した積極的な海外事業の展開を進めており、世界売り上げランクの100位以内に入るような国際的に通用する日本発の新薬も次々と生み出されています（3-4）。

3-4 世界売り上げランク100位に占める日本オリジンの製品（2020年）

順　位	製　品
7	オプジーボ
40	ジレニア
42	アクテムラ
43	トリーメク
78	ラツーダ
80	テビケイ
95	プログラフ

注：順位は2020年の売上高ベース
●出所：EvaluatePharmaを基に医薬産業政策研究所にて作成

(2) 医薬品の生産額、市場規模

日本の医療用医薬品の生産額は約 8 兆 5,000 億円です（2020 年）。この年の医薬品生産額の合計は約 9 兆 3,000 億円であり、医療用医薬品の生産額は全体の 90％以上にのぼり、非常に大きなウエイトを占めています（**3-5**）。

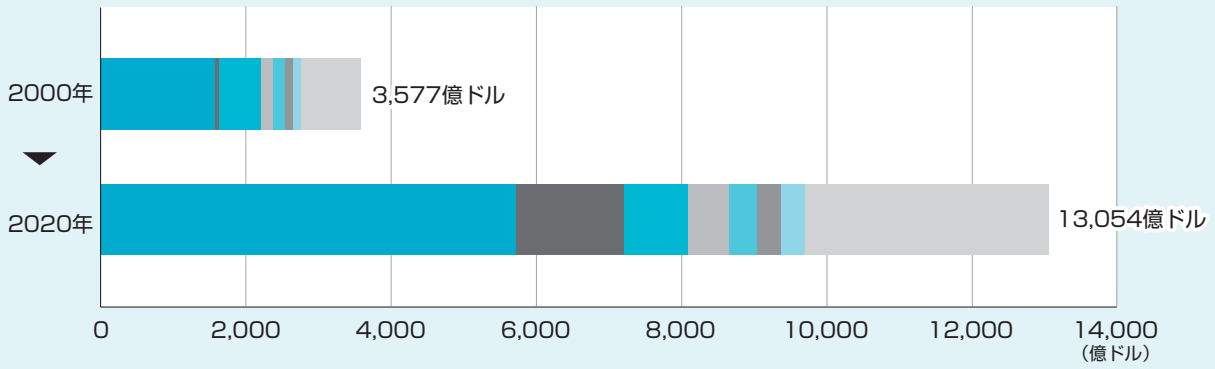
世界の医薬品市場を見ると、2000 年から 2020 年までの 21 年間でおよそ 3 倍を超える規模に成長しています（**3-6**）。しかしながら、日本市場はほとんど成長しておらず、2013 年以降は、北米市場、中国市場に次ぐ第 3 位の市場規模となっています。また、日本市場の世界の医薬品市場におけるシェア推移を見ると、2020 年の世界シェアは 6.8％となり、2000 年の 16.2％と比較すると半分以下となっています。グローバルな医薬品市場の成長に比べ、日本の医薬品市場の成長は、たび重なる薬価引き下げなどで抑制されてきたことがわかります。

3-5 医薬品生産額の推移

年	生産額合計			医療用医薬品			要指導医薬品・一般用医薬品			うち配置用家庭薬		
	金額（百万円）	伸び率（%）	構成比（%）	金額（百万円）	伸び率（%）	構成比（%）	金額（百万円）	伸び率（%）	構成比（%）	金額（百万円）	伸び率（%）	構成比（%）
2010	6,779,099	-0.6	100	6,148,876	-0.4	90.7	630,223	-2.3	9.3	28,030	-2.6	0.4
2011	6,987,367	3.1	100	6,344,512	3.2	90.8	642,855	2.0	9.2	25,624	-8.6	0.4
2012	6,976,712	-0.2	100	6,263,010	-1.3	89.8	713,702	11.0	10.2	24,684	-3.7	0.4
2013	6,894,014	-1.2	100	6,193,983	-1.1	89.8	700,031	-1.9	10.2	22,624	-8.3	0.3
2014	6,589,762	-4.4	100	5,868,927	-5.2	89.1	720,835	3.0	10.9	20,459	-9.6	0.3
2015	6,748,121	2.4	100	5,996,890	2.2	88.9	751,231	4.2	11.1	18,962	-7.3	0.3
2016	6,623,860	-1.8	100	5,871,373	-2.1	88.6	752,487	0.2	11.4	17,276	-8.9	0.3
2017	6,721,317	1.5	100	6,007,419	2.3	89.4	713,898	-5.1	10.6	14,272	-17.4	0.2
2018	6,907,722	2.8	100	6,172,570	2.7	89.4	735,152	3.0	10.6	14,224	-0.3	0.2
2019	9,485,988	37.3	100	8,662,822	40.3	91.3	823,166	12.0	8.7	2,725	-80.8	0.0
2020	9,305,376	-1.9	100	8,519,501	-1.7	91.6	785,875	-4.5	8.4	2,462	-9.7	0.0

●出典：厚生労働省「薬事工業生産動態統計調査」

3-6 世界の医薬品市場規模



世界の医薬品市場シェアの推移

	北米	中国	日本	ドイツ	フランス	イタリア	イギリス	その他
2000年	44.0%	1.4%	16.2%	4.7%	4.7%	3.1%	3.1%	22.9%
2020年	43.8%	11.3%	6.8%	4.4%	2.9%	2.6%	2.5%	25.7%

※数値は、上記グラフの各年における市場価格の総計を100%とした場合のシェアの推移

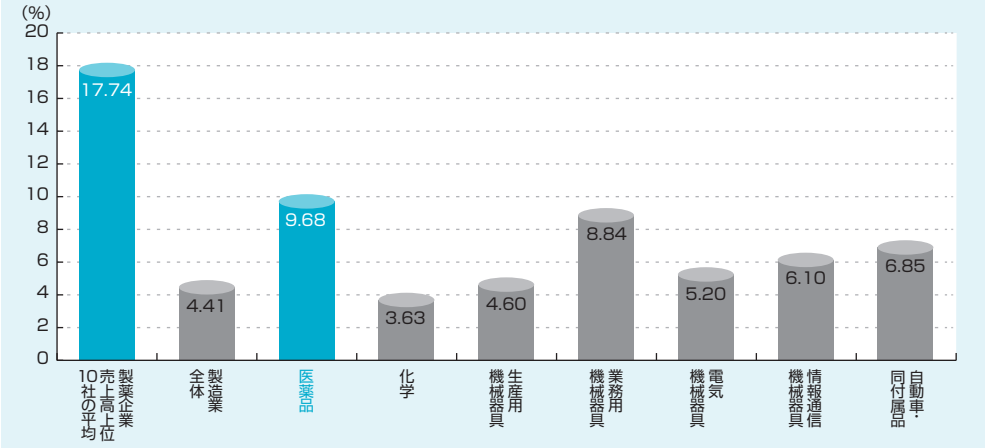
●出所：Copyright© 2022 IQVIA. IQVIA World Review, Data Period – Year 2000-2020 を基に医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

(3) 研究開発費

製薬産業の特徴のひとつとして、他産業に比べて研究開発費の占める割合が大きい点が挙げられます。売上高に占める研究開発費の割合を見ると、医薬品産業は 9.68％と、全産業の平均 4.41％の約 3 倍に達し、他の産業に比べて際立って高くなっています（**3-7**）。さらに製薬企業の国内大手 10 社の研究開発費比率は 17.74％にも及び、製薬産業はトップクラスの研究開発投資を行っていることがわかります。

個々の企業に目を移すと、研究開発により優れた新薬の開発に成功した企業は業績を上げ、反対に研究開発が進んでいない企業の業績は低迷する傾向にあるようです。このように製薬産業は多額の費用をかけた研究開発の成功が鍵となっており、優れた医薬品が継続して創出されるためにも、研究開発への投資は今後ますます重要になると考えられます。

3-7 産業別研究開発費の対売上高比率（2020年）



注１：ここで記載の研究開発費とは、総務省「科学技術研究調査」で定義される社内使用研究費のことであり、自己資金および外部（社外）から受け入れた資金のうち社内で使用した研究費をいう。委託研究・共同研究などの外部（社外）へ支出した研究費は含まない。
注２：10 社の平均には連結・外部支出研究費を含む
●出所：総務省「科学技術研究調査報告」
●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2022「A-7-6. 産業別研究開発費の対売上高比率（日本）」、「A-7-7. 産業別，性格別研究開発費の構成比（日本）」を基に作成

プログラム医療機器（SaMD）

プログラム医療機器（SaMD：Software as a Medical Device）とは、デジタル技術を活用して診断、治療、予防を支援するソフトウェアとその記録媒体を指します。2013 年の医薬品医療機器等法の改正で新たにソフトウェア単体が医療機器として位置づけられるようになり、大手医療機器メーカーやスタートアップ企業が開発に乗り出しました。近年登場した SaMD に、人工知能（AI）を用いた内視鏡画像診断支援ソフトウェア、ニコチン依存症治療用アプリ、高血圧治療用アプリなどがあります。一方、薬事承認を必要とせず、日常の健康増進などを目的に使用されるソフトウェアは非プログラム医療機器（non-SaMD）と呼ばれます。

日本における SaMD の開発と実用化は、海外と比べ後れをとっているといわれています。そこで、厚生労働省は 2020 年 11 月に「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略（DASH for SaMD）」を公表し、SaMD の早期実用化に向けた体制強化などを打ち出しました。また、これに合わせ、それまで厚生労働省と独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が個別に行っていた SaMD に関する企業からの相談窓口を一元化しました。

一方、開発元の企業からは、SaMD と non-SaMD の境界がわかりにくいとの声も挙がり、これが開発の妨げとなっていました。こうした指摘を踏まえ、厚生労働省は 2021 年 3 月に「プログラムの医療機器該当性に関するガイドライン」を策定しました。SaMD の「基本的考え方」について、「疾病の診断、治療、予防に寄与するなど、医療機器としての目的性を有しており、かつ、意図したとおりに機能しない場合に患者（又は使用者）の生命及び健康に影響を与えるおそれがあるプログラム（ソフトウェア機能）」と記載しました。この考え方によれば、電子カルテ、おくすり手帳アプリ、フィットネス用アプリだけでなく、クラスⅠ（不具合が生じた場合でも、人体へのリスクが極めて低いと考えられるもの：一般医療機器）に相当する製品も non-SaMD であり、SaMD に該当するのはクラスⅡ（管理医療機器）以上ということになります。厚生労働省では、具体的にどのようなソフトウェアが SaMD に該当するのか、ウェブサイト上で事例のリストを公開しています。

なお、それまで明確でなかった SaMD の診療報酬上の位置づけについても整理・検討が進み、2022 年度の診療報酬改定では、SaMD による医学管理を行った場合に算定する「プログラム医療機器等医学管理加算」の項目が新設されました。

このように、近年のデジタル技術の急速な進展に伴い、SaMD に関する国の制度は少しずつ整備されてきています。新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の流行により、社会のデジタルトランスフォーメーション（DX）が進んでいますが、医療の分野も例外ではなく、SaMD のさらなる開発と実用化の推進が期待されています。

抗体医薬

抗体は免疫グロブリンとしても知られ、異物が体内に入るとそれを攻撃、排除しようとするために産生されるＹ字型の糖タンパク質の総称です。人体にもともと備わっているこの働きは「抗原抗体反応」と呼ばれますが、抗体医薬はこの仕組みを利用した医薬品です。

1975 年に特定の抗体を認識するモノクローナル抗体の作製技術が報告されて以降、その優れた特異性と高い親和性に期待が高まり、モノクローナル抗体を医薬品に応用する研究が行われるようになりました。当初は、マウス由来の抗体の抗原性の問題などから臨床応用は難航しましたが、その後の抗体工学技術の飛躍的な進展により、免疫グロブリン分子の大部分あるいは全体をヒト免疫グロブリン配列に置き換えたキメラ抗体、ヒト化抗体、さらには完全ヒト抗体の作製が可能になりました。

現在では、がんや自己免疫疾患など、さまざまな病気で抗体医薬が使われるようになっています。例えば、自己免疫疾患のひとつである関節リウマチに対しては、従来の抗リウマチ薬と比べて、抗体医薬は強力な炎症抑制効果と関節破壊抑制効果を併せ持つことから、既存の治療薬では不十分だった関節リウマチ症例に対しても効果を発揮すると考えられます。

近年、がんに対しては抗体薬物複合体（ADC：antibody drug conjugate）といわれる抗体医薬と抗がん薬をリンカーで結合させた医薬品が、抗体医薬と低分子医薬品の特徴を併せ持つ次世代医薬群として注目されています。ADC では有害事象が軽減し、抗がん薬単独では投与が難しい高用量の投与が可能となることも期待されています。

また、ひとつの抗体が同時に 2 種類の抗原を認識するバイスペシフィック抗体（二重特異性抗体）も実用化され、さまざまな抗体工学技術を駆使した抗体も登場しています。

さらに現在では、キメラ抗原受容体発現 T 細胞（CAR-T）療法のサイトカイン放出症候群（CRS）を制御するために抗体医薬が使われるなど、有害事象の対策にも用いられています。抗体医薬は、今後さらに広く使用されるようになると期待されています。

核酸医薬

人体の細胞内（核内）には遺伝子の構成成分である DNA（デオキシリボ核酸）や RNA（リボ核酸）があり、DNA の遺伝情報は RNA に転写され、その情報に基づいて細胞の材料となるタンパク質が作られます。

「核酸」は DNA と RNA の総称で、「核酸医薬」とは核酸を人工的に合成した医薬品をいいます。現在、治療の主流である低分子医薬品、抗体医薬に続く次世代医薬として注目を集めています。

低分子医薬品、抗体医薬などが病気の原因となるタンパク質の働きを抑えるのに対し、核酸医薬はタンパク質を合成する前段階で病気の原因となる遺伝子に直接作用してタンパク質の産生を制御します。

従来、アプローチが難しかった標的を狙って効果を発揮するため、既存の医薬品では治療が困難であった遺伝性の希少疾患を中心に実用化が進んでいます。国内では 2008 年 7 月に加齢黄斑変性症治療薬ペガプタニブを皮切りに、脊髄性筋萎縮症治療薬ヌシネルセン、トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー治療薬パチシラン、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬ビルトラルセンが承認され、臨床応用されています。

中でも 2020 年 5 月に発売されたビルトラルセンは、国産初の核酸医薬です。筋肉細胞の骨組みとなるタンパク質を合成する遺伝子の変異が原因で筋肉細胞が壊れ、筋力が徐々に低下して 10 歳頃には歩行困難となる難病が対象です。ビルトラルセンはこの遺伝子の働きを制御して、正常に近いタンパク質を作り、筋細胞の壊死を抑えます。有力な治療法として高い期待が寄せられる一方で、効果が見込める患者さんは 1 割程度で、いったん壊死した筋細胞を再生できないなどの限界もあります。

核酸医薬には、体内で分解されやすいなど薬物送達の問題もありますが、有効性が高く簡便かつ迅速な医薬品の設計が可能で、また化学合成で製造できるなど利点が多くあります。新型コロナウイルスに対する mRNA ワクチンは、核酸医薬の代表格としての地位を確立しました。世界的に RNA を創薬標的とする研究が注目を集めていることから、今後は製品の数だけでなく対象疾患も広がっていく可能性があり、さまざまな治療薬への応用が期待されています。

(4) 製薬産業の将来展望

2013年6月、厚生労働省は「医薬品産業ビジョン2013」を公表しました。その中では、資源の乏しい日本において、国家の成長のためには知識集約型高付加価値産業の育成が必要であり、その筆頭に位置づけられるのが製薬産業であるという点が強調されていました。具体的には、「資源が乏しいわが国にとっては、知恵と知識、ものづくりを活かした産業を活性化していかなければ経済国家として成り立たなくなる。医薬品産業は、付加価値の高い製品を製造する産業であり、まさにこれに応えられる産業である」と位置づけています。

このような中、2015年4月には米国の国立衛生研究所*（NIH）を参考とし、国立研究開発法人日本医療研究開発機構*（AMED）が設立されました。製薬産業からも要望していた医療分野の研究開発の司令塔機能を有する組織として、その業績・成果は高く評価されています。

また、AMED設立の年に公表された「骨太の方針2015」では、「臨床上の必要性が高く将来にわたり継続的に製造販売されることが求められる基礎的な医薬品の安定供給、成長戦略に資する創薬に係るイノベーションの推進、真に有効な新薬の適正な評価などを通じた医薬品産業の国際競争力強化に向けた必要な措置を検討する」ことが盛り込まれました。これを受けて2015年9月に厚生労働省により「医薬品産業強化総合戦略～グローバル展開を見据えた創薬～」が策定され、2017年12月に一部改訂が行われています。一部改訂では、ゲノム創薬、核酸医薬、人工知能（AI）や個別化医療、ビッグデータ利活用の進展などの治療・開発アプローチの変化を捉え、バイオ医薬品などにおいても、有効性・安全性に優れ、競争力がある低コストで効率的な創薬を実現できる環境の整備を進めることで、最終的には海外市場にも展開する創薬大国の実現を目指すと説明されています。

製薬協では、2016年1月に「製薬協 産業ビジョン２０２５」（**3-8**）をまとめました。研究開発志向型の製薬企業がその使命を果たすために、今後、どのような視点で取り組むべき必要があるかなどについてまとめるとともに、すべてのステークホルダーの方々に創薬イノベーションの価値と重要性について、理解と協力を得ることを目的として策定されました。

日本の製薬産業の環境対策

日本の製薬産業は、持続可能な社会の実現に向けて、積極的に地球環境保全対策に取り組んでいます。

(1) 医薬品の研究開発・生産時の環境負荷の低減

世界的な高齢化社会の進展に伴い、医薬品の生産量は年々増えています。事業活動が環境に与える影響を最小限にするために環境負荷の低減に取り組んでいます。

事業活動に伴い発生する温室効果ガスについては、1997年度から地球温暖化対策に関する自主行動計画を策定し、CO_2排出量削減活動を継続しています。医薬品市場の拡大によるエネルギー需要の増加に対し、これまで生産活動の効率化、高効率機器の導入、よりCO_2排出量の少ないエネルギーへの転換などの取り組みを積極的に進め、CO_2排出量を順調に削減してきました。

事業活動に伴い発生する廃棄物については、1997年度から省資源・廃棄物対策に関する自主行動計画を策定し、廃棄物の最終処分量削減活動を継続しています。これまで廃棄物のリサイクル化などを積極的に進め、廃棄物の埋め立て量を大幅に削減してきました。

また、医薬品の研究開発・生産時に使用するさまざまな化学物質については、1997年度から化学物質管理に関する自主行動計画を策定し、排気ガス浄化装置の設置やより安全な化学物質の採用などの対策により、化学物質の環境への排出量を順調に削減してきました。計画達成後も化学物質の環境への排出量削減活動を継続しています。

(2) 医薬品の容器・包装の環境対策

環境対策への努力として、医薬品の容器や包装の簡素化や再生紙の利用、分別のしやすい構造や表示の採用など、あらゆる面に力を注いでいます。

これらの環境に対応する製薬協の活動は、2019年までは環境安全委員会、それ以降は日薬連の環境委員会での検討に基づき行ってきました。2022年4月に、製薬協としての環境に関する対応案の検討や意見集約を目的として、新たに企画政策会議の下に環境問題検討会を設置しました。同検討会では日薬連の環境委員会と連携し、地球環境保護に関連する諸問題の対応を検討し、特に2050年のカーボンニュートラル達成への取り組みや循環型社会形成を目指した活動などの推進を図るための施策に取り組んでいきます。

そして、2019年1月には、製薬協として「製薬協政策提言2019－イノベーションの追求と社会課題の解決に向けて－」を公表しました。この提言は上記ビジョン２０２５の実現に向け、「テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備」と「イノベーションの推進と国民皆保険の持続性の両立を求めて」のふたつのパートから構成されています。政策提言の推進に当たり、製薬業界自らの役割を果たしていくべきとの認識のもと、「医薬品の適正使用の推進」にも、これまで以上に取り組むこととしています。

また、2020年6月には、新型コロナウイルス感染症の流行拡大を受け、今般の感染拡大の収束に向けた取り組みにとどまらず、今後の未知なるパンデミックに対する備えを整えていくために必要な課題を克服するための提言として、「感染症治療薬・ワクチンの創製に向けた製薬協提言－新型コロナウイルス感染症発生を契機として－」を公表しました。

3-8 製薬協 産業ビジョン２０２５

ビジョン１：先進創薬で次世代医療を牽引する～P4+1 医療への貢献～
●先進技術の積極的な利活用と、既存技術の高度化を合わせて、創薬を進化させ、患者さん理解のもと、患者さんごとに最適な薬を、先制医療を含めた適切なタイミングで提供するという、次世代医療（P4+1 医療）の実現に貢献する

ビジョン２：世界80億人に革新的な医薬品を届ける
●治療薬を切望する世界の患者の期待に応えるため、自らが創出した革新的な医薬品を、文字どおり世界中の人々に届けることを目指す

ビジョン３：高付加価値産業として日本経済をリードする
●経営の効率化、特に合理化された研究開発によって革新的な医薬品を生み出し、世界の多くの方々の健康増進に寄与する
●その結果として、日本の経済成長に貢献し、次代の日本を担う高付加価値産業となる

ビジョン４：健康先進国の実現を支援する～心おきなく健康で長生きできる社会に～
●患者参加型医療の推進に寄与し、より質の高い人生を送ることができるようになるとともに、社会保障制度の持続可能性を高めることにも貢献する

ビジョン５：志高き信頼される産業となる
●高い志をもって自らの使命を果たし、全てのステークホルダーから評価・信頼されている産業、その規範や取り組みが海外においても尊重されている産業となる
●創薬イノベーションの重要性に対する人々の理解を深め、創薬に希望を寄せる人、創薬を目指す人、創薬に参加したいと考える人を増加させていく

3. 世界の製薬産業

日本は、世界で3番目の新薬創出国であり（3-9）、近年は国内大手製薬企業を中心にグローバル化が加速し、海外売上高比率が60%を超えることも珍しくありません。海外市場へ着実に浸透を図っているものの、売上高、研究開発費は欧米の国際的な大手企業に比べると国内企業の規模は小さく、国際競争力も必ずしも十分とはいえないビジネス環境の中で、革新的な新薬を創出し続けています。

また、BRICs、東南アジアを中心とした新興国市場の拡大に合わせ、世界の製薬企業と同様、日本の各社もこれら新興国市場への積極的なビジネス展開を図っていますが、薬事規制の相違やカントリーリスクなどの課題にも直面しています。これらの課題を解決するために、日本の製薬産業は、企業個々の取り組みはもとより、近年では国・政府を挙げての官民協働で積極的な施策・活動を進めています。

3-9 医薬品創出企業の国籍別医薬品数

国　名	新薬の開発品目数（品）
アメリカ合衆国	49
スイス	10
日本	9
イギリス	9
ドイツ	8
デンマーク	7
フランス	2
スウェーデン	2
オーストラリア	1
イタリア	1
ベルギー	1
イスラエル	1

●出所：Copyright©2022 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2020, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, EvaluatePharma, Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligence を基に医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）
●出典：医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.64（2021年11月）

（1）世界の製薬産業を取り巻く環境

製薬産業では、新薬開発難度の上昇や、研究開発費の高騰により、効率的な企業経営を目的として、企業の大型合併・買収の計画や、事業の選択と集中を目的とするメガファーマ間での事業再編などが公表されてきました。近年では買収額が増加傾向にあり、規模を拡大し技術革新を続けるトレンドは、ポストコロナ時代を見据えて再燃しています。

2018年以降の合併・買収としては、ブリストルマイヤーズスクイブがセルジーンを、またアッヴィがアラガンを買収しました。これらは600～700億ドルを超える大型案件となっています。また、規模の拡大を目指すだけでなく、市場拡大を大きく見込むがん領域の開発品を獲得する買収も活発です。2019年では、イーライリリーによるロキソ、ファイザーによるアレイ、メルクによるアーキュール、サノフィによるシンソークスの買収では、いずれも新しい抗がん剤の開発に期待が寄せられています。

また、新たなモダリティの台頭が製薬企業の合従連衡を促進しているのも近年の特徴です。さまざまな新規の創薬基盤技術を活用した医薬品を創出する企業の多くはスタートアップ企業です。これまで低分子医薬品や抗体医薬などのバイオ医薬品を開発の中心としていた製薬企業が、これらの技術を獲得するために、提携・買収をしています。例えば、次世代医薬品として開発が加速している遺伝子治療薬開発を巡って、ノバルティスがアベクシスを、ロシュがスパーク・セラピューティクスを買収しています。日本においても、アステラス製薬のオーデンテス・セラピューティクス買収、大日本住友製薬（現：住友ファーマ）によるロイバント買収に代表されるように、規模の大小にかかわらず、新規創薬技術の取り込みを狙った買収が目立ち、各社の研究開発に対する積極的な投資意欲が窺われます。

さらに2019年には国内最大手の武田薬品工業によるアイルランド製薬大手のシャイアー買収が完了し、日本の製薬企業として初めて売上高で世界トップ10に入るメガファーマが誕生しました。買収総額は、当時日本企業による海外企業買収で過去最高の約6.2兆円（約460億ポンド）となりました。この買収事案でも明らかになりましたが、従来の医薬品や医療では解決できなかったアンメット・メディカル・ニーズに対する革新的な新薬の開発、市場導入に挑戦することが必要となってい

ます。近年では、C型肝炎の完治可能な新規経口薬や、根治切除不能ながん患者さんに対して統計学的に有意に生存期間を延長する新規がん免疫療法薬、また、患者数が少なく治療方法がなかったさまざまな難治性疾患に対するオーファン・ドラッグが多数開発されています。

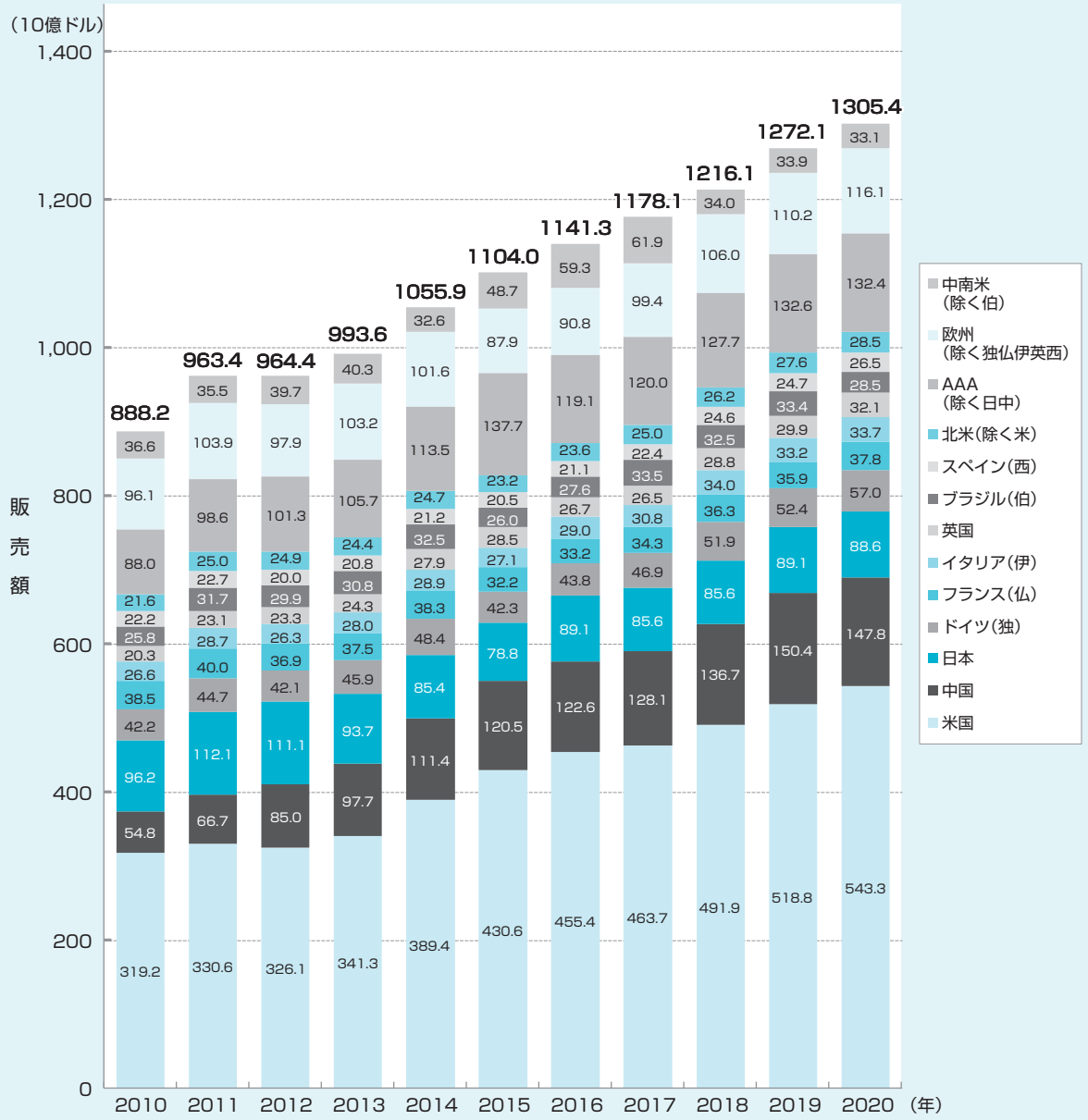
これらの例に代表されるように、製薬産業のイノベーション力に基づいた社会的な使命が大いに果たされ、真に医療の質の向上に貢献をしている一方で、一部の新薬は高額なことから、その使用が医療保険財政を逼迫させ得るとの懸念も生まれ、医薬品を含む医療の費用対効果評価や薬価抑制策の検討・実施につながっています。

(2) 世界の医療用医薬品市場

世界の医療用医薬品市場は年々拡大しており、2020年には販売額で1兆3,054億ドルとなりました(**3-10**)。今世紀の約20年間で比較するとおよそ3倍以上の規模に成長しています。

一方、日本の医薬品市場は、米国、中国に次ぐ第3位の規模として上位の一角を占めるものの、その成長率は非常に低く、2017～2021年の5年間の成長率は年平均マイナス0.5%となり、先進10カ国で唯一のマイナス成長となりました(**3-11**)。この低成長は今後も続き、調査機関のレポートでは、「毎年の薬価改定がイノベーションの進展を相殺し、日本市場は2026年まで減少が続く」と見通

3-10 世界の医療用医薬品の販売額推移



●出所：Copyright© 2022 IQVIA. IQVIA World Review, Data Period – Year 2010-2020 を基に医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

されています。

近年、日本の製薬企業による海外、特に欧米における有力新薬の開発・上市が増えています。国内の大手製薬企業 8 社の 2020 年度の海外売上高比率は平均 56.6%※となっており、海外売上高比率が 50%以上の企業が過半数を占めています。

一方、日本の医薬品の輸出入状況は、2021 年の輸出額が約 8,611 億円であるのに対して、輸入額は約 4 兆 1,866 億円と通関ベースでは大幅な輸入超過の状態にあります（**3-12**）。この要因としては、高額な抗がん剤やバイオ医薬品などの輸入が近年増えていることが考えられます。続いて、諸外国との特許・ノウハウなどの技術競争力を示す技術貿易収支を見ると、2020 年の医薬品としては、受取金額が 6,341 億円であるのに対し、支払金額は 1,899 億円となり、技術面では輸出（受取金額）が輸入（支払金額）を大きく上回り、黒字額は 4,442 億円に達しています（**3-13**）。これは諸外国と比べ、日本の医薬品に関する技術競争力が高いことを示しているといえます。

しかしながら、今後も医薬品の輸入超過が続き、国内企業の海外売上比率に伴い医薬品製造拠点の

3-11 医薬品市場の国別成長率

国名	年平均成長率 2017～21 年	2026 年予測 （十億ドル）	年平均成長率 2022～26 年予測
全世界	5.1%	1,750～1,780	3～6%
【先進国】	4.9%	1,635～1,665	2.5～5.5%
米国	4.9%	685～715	2.5～5.5%
日本	▲0.5%	73～93	▲2～1%
EU 4カ国＋英国	4.8%	245～275	3～6%
ドイツ	6.2%	76～96	4.5～7.5%
フランス	3.0%	48～52	2～5%
イギリス	5.9%	46～50	4～7%
イタリア	3.0%	41～45	2～5%
スペイン	5.4%	32～36	1.5～4.5%
カナダ	5.2%	32～36	3～6%
韓国	6.0%	21～25	3.5～6.5%
オーストラリア	0.6%	15～19	1.5～4.5%
その他先進国	4.7%	132～152	3～6%
【新興国】	7.8%	470～500	5～8%
中国	6.1%	190～220	2.5～5.5%

●出典：米 IQVIA「The Global Use of Medicines 2022 OUTLOOK 2026」を基に AnswersNews にて作成

3-12 医薬品輸出入金額の年次推移

年	輸出		輸入		入超	
	金額（A） （百万円）	対前年 伸び率（%）	金額（B） （百万円）	対前年 伸び率（%）	金額 （百万円）	B／A（倍）
2017	559,294	14.1	2,644,919	△4.9	2,085,625	4.73
2018	648,722	16.0	2,962,208	12.0	2,313,486	4.57
2019	733,105	13.0	3,091,876	4.4	2,358,771	4.22
2020	835,974	14.0	3,197,263	3.4	2,361,289	3.83
2021	861,121	3.0	4,186,652	30.9	3,325,531	4.86

●出典：財務省貿易統計「概況品別表 概況品参照指定 507 医薬品」を基に日本製薬工業協会にて作成

※：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2022「A-3-4. 日米欧大手製薬企業の海外売上高 - その 1-」

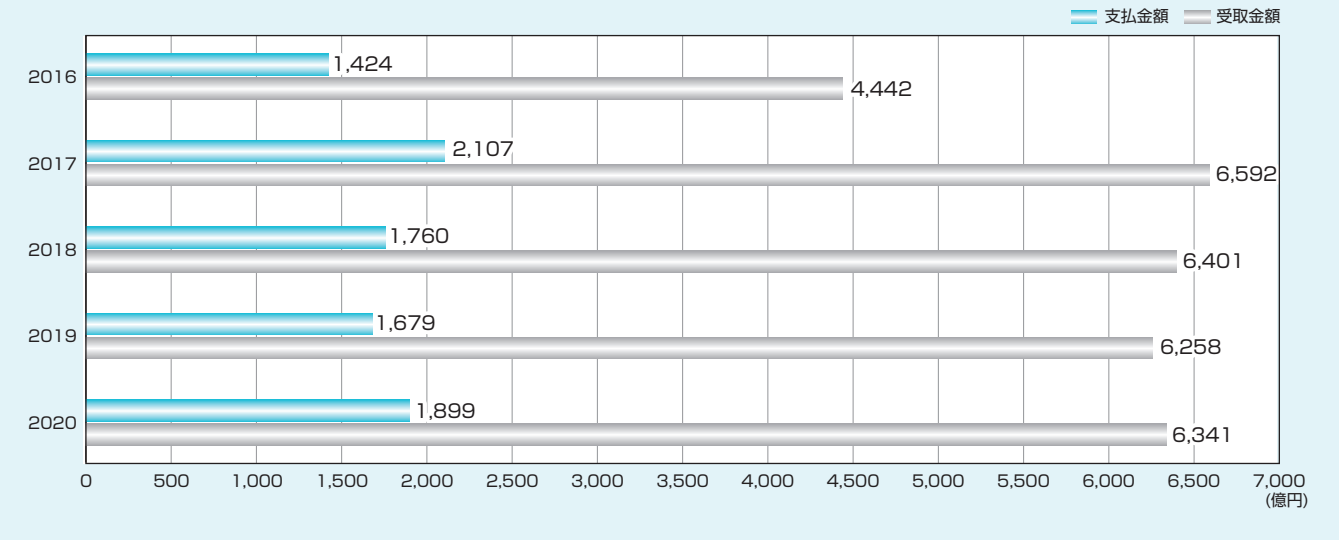
海外移転が次々進んでいくと、それに併せて製造技術や知的財産権の海外移転も起こることが考えられます。このことは国内税収や雇用の縮小にも影響し、国内製薬産業の空洞化にもつながる可能性をはらんでいます。また、コロナ禍で顕在化した安全保障の観点では、国民生活に必要な医薬品を、海外からの輸入に頼りすぎる構造の危険性も示唆されています。日本の医薬品産業における研究開発・製造立地としての魅力や競争力を高める取り組みや政策は、これまで以上に重要になってきます。

(3) 欧米製薬企業との差異

日本企業のグローバル化が進んだとはいえ、日本と欧米の製薬企業を比較した場合、売上高、研究開発費ともに非常に大きな開きがあります。特に世界的な合併・買収で巨大製薬企業が続々と誕生した結果、その開きは以前より顕著になっています。2020 年度（会計年度ベース）では、新規医薬品が好調であったスイスのノバルティスが医薬品売上高約 487 億ドル（約 5 兆 2,000 億円※）で世界一となりました。第 2 位は、前年の 1 位から陥落したスイスのロシュとなり、スイス企業が世界で強さを発揮しています。国内企業では、日本トップの武田薬品工業が医薬品売上高約 299 億ドルとなり、10 位にランクインしています（**3-14**）。

なお、2021 年度の医薬品売上高では、新型コロナウイルス感染症のワクチンや治療薬の開発を手掛けた米国のファイザーが、世界的に販売を大きく伸ばし順位を上げています。新規モダリティである mRNA ワクチンに早期に取り組んだことが、世界の医療への貢献と自社の成長という成功につながっています。製薬企業にとって革新的な技術へのアクセスと、その研究開発の重要性が明確に示された事例といえるでしょう。

3-13 製薬産業における技術輸出入収支



●出典：総務省統計局「科学技術研究調査結果」の統計表を基に日本製薬工業協会にて作成

※：米ドル／円 106.7 で計算（2020 年の年間平均レート）

(4) アジア地域の市場拡大

近年、アジア地域、特に中国市場が大幅に拡大しています。2013年には日本の医薬品市場を抜き去り、米国に次ぐ世界第2位の規模となっており、今後も成長が予想されています。

健康分野における中長期的な国家計画「健康中国2030」を発表して以来、国民の健康/長寿に対する意識・行動変容を促し、「中国製造2025」では、バイオ医薬品開発・製造が国家の重要戦略の1つとして取り上げられています。2017年の医薬品規制調和国際会議（ICH）加盟に前後して薬事規制改革、省庁再編、抗がん剤へのゼロ関税実施など、大掛かりな改革を進めて大国に見合った医療制度を目指すことで、マーケットアクセス向上、品質・安全性の向上を図っており、また多数のバイオベンチャーの勃興は次の新薬創出を担うことのできる国として存在感を増してきています。

中国の製薬企業はこれまでジェネリック医薬品の製造・販売を多く手掛けてきましたが、近年は新薬開発にも積極的に参画するようになり、2011～2020年の10年間における開発品目数は約25倍に増え、2020年時点では614品目となりました。また、品目の内訳としては、抗がん剤が多く、特にCAR-T細胞療法など、バイオ医薬品の開発が活発化しています。一方で、中国国内での開発品が多く、グローバル展開を視野に入れていると考えられる品目は93品目（約15%）にとどまっています※。

将来的な中国の市場拡大は、高齢化、都市人口増加、経済伸長率による理由だけでなく、創薬のための研究開発投資の活発化も鍵を握ると考えられ、ここ最近の開発品目数の増加はそれら政策の影響もあると考えられています。

次にアセアン地域ですが、こちらは自国で新薬を開発するのではなく、日米欧の新薬を輸入あるいはライセンスにより使用してきました。また、東アジア諸国と比べても医薬品承認申請書類の標準化を進めるICHへの加盟が遅れていることや、各国で医療制度・文化・言語が異なるなど、薬剤登録に煩雑な手続きを各国ごとに経なければならず、新薬を上市するまでに長い時間を要していま

3-14 世界の製薬企業の規模と業績（2020）

順位	企業名	医薬品事業売上高（百万米$）	総売上高	金額単位	医薬品事業比率(%)	純利益	売上高利益率(%)	総資産	従業員数
1	Novartis	48,659	48,659	百万 米ドル	100.0	8,072	16.6	132,059	105,794
2	Roche	47,433	58,323	百万 スイス・フラン	76.4	14,295	24.5	86,138	101,465
3	AbbVie	45,804	45,804	百万 米ドル	100.0	4,556	9.9	150,565	47,000
4	Johnson & Johnson	45,572	82,584	百万 米ドル	55.2	14,714	17.8	174,894	134,500
5	Merck (USA)	43,021	47,994	百万 米ドル	89.6	7,067	14.7	91,588	74,000
6	Bristol-Myers Squibb	42,518	42,518	百万 米ドル	100.0	△9,015	△21.2	118,481	30,250
7	Pfizer	41,908	41,908	百万 米ドル	100.0	9,616	22.9	154,229	78,500
8	Sanofi	36,147	36,041	百万 ユーロ	87.8	12,314	34.2	114,529	99,412
9	GlaxoSmithKline	30,818	34,099	百万 英ポンド	70.5	5,749	16.9	80,431	94,066
10	武田薬品工業	29,949	3,197,812	百万 円	100.0	376,005	11.8	12,912,293	47,099
11	AstraZeneca	26,617	26,617	百万 米ドル	100.0	3,196	12.0	66,729	76,100
12	Amgen	25,424	25,424	百万 米ドル	100.0	7,264	28.6	62,948	24,300
13	Gilead Sciences	24,689	24,689	百万 米ドル	100.0	123	0.5	68,407	13,600
14	Eli Lilly	24,540	24,540	百万 米ドル	100.0	6,194	25.2	46,633	35,000
15	Bayer	19,695	41,400	百万 ユーロ	41.6	△10,495	△25.4	117,046	99,538
16	Novo Nordisk	19,404	126,946	百万 デンマーク・クローネ	100.0	42,138	33.2	144,922	45,323
17	Boehringer Ingelheim	17,421	19,566	百万 ユーロ	78.0	3,062	15.6	36,887	51,944
18	Teva	16,659	16,659	百万 米ドル	100.0	△3,990	△24.0	50,640	39,717
19	Biogen	13,445	13,445	百万 米ドル	100.0	4,001	29.8	24,619	9,100
20	Viatris Inc	11,946	11,946	百万 米ドル	100.0	△670	△5.6	61,553	45,000
21	アステラス製薬	11,702	1,249,528	百万 円	100.0	120,589	9.7	2,273,628	15,455
22	第一三共	9,014	962,516	百万 円	100.0	75,958	7.9	2,085,178	16,033
23	大塚ホールディングス	8,946	1,422,826	百万 円	67.1	148,137	10.4	2,627,807	33,151
24	Merck (Germany)	7,583	17,534	百万 ユーロ	37.9	1,987	11.3	41,796	58,096
25	エーザイ	5,489	645,942	百万 円	90.7	42,119	6.5	1,090,009	11,237

●出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2022「A-3-3. 大手製薬企業の規模と業績（25社/連結決算）（世界）」

※：政策研ニュース No.60 2020年7月「中国製薬企業による新薬臨床開発動向」

した。

このような共通の課題解決に向けた国際的な協力関係の構築として、製薬協はアセアンを含むアジア11ヵ国（国・地域）の新薬企業協会に働きかけ、「アジア製薬団体連携会議*（APAC）」を開始しました。2012年から同会議は継続して開催され、官民連携して規制調和とさまざまな課題解決を推進しています。

また、PMDAは2015年に「国際戦略2015」を策定しました。同戦略は、近年の規制当局を取り巻く環境の変化、および厚生労働省の国際薬事規制調和戦略を踏まえ、PMDAが2023年度までの期間中に取り組むべき国際活動を定めたものです。国際戦略2015は、3つのビジョンと5つの戦略から構成されており、この戦略の中で、PMDAは「アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター」と「レギュラトリーサイエンスセンター」という2つのセンターの設立に言及しました。

これを受け、2016年4月には「アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター」が設立され、PMDAがこれまでに培った知識・経験を活用し、アジア諸国の規制当局の要望に応じて、規制当局の担当者向けの研修が提供されています。また、2018年4月には、「レギュラトリーサイエンスセンター」も設立され、リアルワールドデータや電子申請データによる承認審査と市販後調査・安全対策の強化、およびアカデミアなどの外部機関との連携によるレギュラトリーサイエンス*の推進に関わるPMDA活動の一元化を目的としています。

優れた医薬品をより安全な形で、かつ、安心して使用できる環境を創出するために、このような国際的な規制水準の向上や、その調和を推進する活動として、アジア・アセアン地域への官民そろった協力体制が活発に行われています。

mRNAワクチン

メッセンジャーRNA（mRNA）ワクチンは、新しい創薬技術であるmRNA技術にドラッグデリバリー技術を組み合わせて開発されたワクチンです。従来のワクチン（生ワクチン、不活化ワクチン、組み換えタンパクワクチンなど）では、弱毒化されたウイルスやウイルスの一部のタンパク質を注射することで免疫を誘導します。これに対し、mRNAワクチンはウイルスを作る基になるタンパク質の遺伝情報のmRNAをヒトに注射します。その情報に基づいてヒトへのウイルス感染時に近い環境で抗体などができることで、ウイルスへの免疫が獲得される仕組みです。

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）により、コロナウイルスの一つである重症急性呼吸器症候群（SARS）などで培われた知見に基づくmRNAワクチンの開発が活発に行われるようになりました。その結果、史上初のmRNA技術を使ったワクチンとして、新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチンが誕生しました。

mRNAワクチンはCOVID-19だけでなく、他の感染症などについても開発が進められています。例えば、米・モデルナは2022年1月、ヒト免疫不全ウイルス（HIV）に対するmRNAワクチンの第Ⅰ相試験を開始しました。同年6月には季節性インフルエンザワクチン候補mRNA-1010の第Ⅲ相臨床試験をスタートさせました。また、独・ビオンテックは2022年中にマラリアワクチンの臨床試験を始めると表明しています。

mRNA技術は、ワクチンだけでなく治療薬の開発においても大きな可能性を秘めています。mRNA技術は細胞に任意のタンパク質を作らせることができるので、遺伝疾患やがんの治療薬、再生医療への応用が期待されています。また、ゲノムに影響を及ぼさないため、がん化のリスクがありません。細胞を用いた製造に比べて、大量生産が容易であるという利点もあります。

一方で、mRNAは生体内では不安定な物質であり、効率よく投与するにはドラッグデリバリー技術などの応用が重要です。さらに、現在の技術では冷凍での保存が必要なため、普及にはコールドチェーンと呼ばれる低温インフラの整備も不可欠となります。

これまで全世界で何十億人もの人々にSARS-CoV-2のmRNAワクチンが接種されました。長期的な評価にはまだ時間を要しますが、発症・重症化予防効果の有効性が示されたことから、mRNAワクチン開発は今後いっそう加速すると考えられます。その過程で、mRNAワクチンの製造や保管・物流インフラの整備が前進することが期待されます。mRNAワクチンが創薬の未来に大きな変化をもたらすかもしれません。

1. 用語解説

本文中で＊印のついている用語の解説です（［　］内はその掲載ページ）。

あ行

アジア製薬団体連携会議（APAC：Asia Partnership Conference of Pharmaceutical Associations）

「革新的な医薬品をアジアの人々に速やかに届ける」目的のもと、国際製薬団体連合会（IFPMA）加盟のアジアの研究開発型製薬13団体、規制当局、アカデミアが一堂に会して、互いの立場を超えた建設的な議論をする国際会議です。2012年に東京で開催されて以来、継続的に開催されています。［60］

アメリカ国立衛生研究所（NIH：National Institutes of Health）

1887年に設立された米国で最も古い医学研究の拠点機関で、公衆衛生局の下部組織として、本部はメリーランド州に置かれています。国立がん研究所や国立心肺血液研究所などそれぞれの専門分野を扱う研究所やセンターと、医学図書館などの研究所以外の組織を合わせて、合計27の施設から構成される世界有数の医学・生物学の統合研究機関となっています。［53］

医薬品医療機器総合機構（PMDA：Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）

特殊法人等合理化計画を受けて、国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター、許可法人医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構（医薬品機構）および財団法人医療機器センターの調査部門の業務を統合し、2004年4月1日に設立された独立行政法人です。業務は、①医薬品･医療機器の審査業務、②市販後の安全対策業務、③医薬品による副作用や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つに大きく分類されます。なお、発足当初所管していた研究開発振興業務については、2005年4月に独立行政法人医薬基盤研究所に移管されました。［7］

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（略称：医薬品医療機器等法、薬機法）

革新的な医薬品・医療機器や再生医療の実用化および医薬品などの安全対策の強化を図るため、「薬事法等の一部を改正する法律」が2014年11月に施行され、「薬事法」から「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」に名称が改正されました。［2］

医薬品規制調和国際会議（ICH：International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use）

医薬品規制当局と製薬業界の代表者が協働し、医薬品規制に関する世界共通のガイドラインを科学的・技術的な観点から作成するための国際会議です。新薬の承認基準は国によって異なるため、共通のガイドラインを定めることで、国際間の調和を進めデータの相互受け入れを行うことを目的に、1990年4月に発足しました。これまでに新薬の開発や承認、医薬品規制などに関する60以上のガイドラインが合意され、各国で実施されています。各国の規制当局・団体が登録しており、2022年6月現在では計55団体の構成となっています。［10］

大型放射光施設（SPring-8）

文部科学省関連施設として兵庫県西播磨地区に建設され、1997年10月から共用が開始された第3世代大型放射光施設です。SPring-8とは、Super Photon ring-8 GeV（80億電子ボルト）に由来します。この施設は、世界最高水準の性能を備えており、電子を光とほぼ等しい速度まで加速し、磁石によって進行方向を曲げた時に発生する放射光と呼ばれる電磁波を使うことで、さまざまな物質の分子構造研究に威力を発揮しています。［7］

か行

核酸医薬

核酸はDNAとRNAの総称で、「核酸医薬」とは核酸を人工的に合成した医薬品のことをいいます。治療の主流である低分子医薬、抗体医薬に続く第3の医薬品と呼ばれ、注目を集めています。低分子医薬、抗体医薬などが病気の原因となるタンパク質の働きを抑えるのに対し、核酸医薬はタンパク質を合成する前段階で病気の原因となる遺伝子に直接作用してタンパク質の産生を防ぎます。従来、アプローチが難しかった標的を狙って効果を発揮するため、既存の医薬品では治療が困難であった遺伝性の希少疾患を中心に実用化が進んでいます。［7］

核磁気共鳴（NMR）装置

核磁気共鳴（NMR）装置は分子が元の安定状態に戻る際の信号を検知して、分子構造などを解析する装置です。近年、1,000MHzを超える磁場を発生できる超高磁場NMRも登場しており、創薬のみならず材料工学などの諸分野にも大きく貢献することが期待されています。［7］

偽造医薬品

製品名や製造・販売元などを本物と偽って表示・販売する違法な医薬品で、多くは本物と有効成分の量や質が異なっています。有害物質が含まれていたり、まったく有効成分が含まれていないこともあり、重篤な健康被害の発生にもつながるため、インターネットで個人輸入する際などには、十分な注意が必要です。［11］

クライオ電子顕微鏡

原子レベルでの生体分子の立体構造解析を成し遂げてきた分析手法は、X線結晶構造解析（XRD）と核磁気共鳴（NMR）の2つですが、近年、第3の構造解析法として「クライオ電子顕微鏡」が進展しており、2017年にはクライオ電子顕微鏡を開発した研究者がノーベル化学賞を受賞しています。クライオ電子顕微鏡は、生体環境に近い状態の水和サンプルを測定できるというメリットがあります。特に膜タンパクの構造解析などに圧倒的な威力を発揮し、創薬に重要な知見が次々と明らかになっています。［7］

ゲノム解析

ゲノムとは、生物体を構成する細胞のDNAに含まれる遺伝情報の全体を指す言葉です。ゲノム解析とは、ゲノムをつくるDNAの配列を決定し、DNAの領域がどのような働きをしているかを調べ、どのような遺伝子が集まっているのかを解析することです。DNAは3～5パーセントしか遺伝子として働いていないのですが、そのような遺伝子として働いていないDNAの部分の配列も決定し、最終的にDNAの端から端まですべての配列を決定することを全ゲノム解析といいます。［7］

抗体医薬

抗体は免疫グロブリンとしても知られ、異物が体内に入るとそれを攻撃､排除するために産生されるY字型の糖タンパク質の総称です。人体にもともと備わっている働きは抗原抗体反応と呼ばれますが、抗体医薬はこの仕組みを利用した医薬品です。抗体工学技術の飛躍的な進展により、がんや自己免疫疾患など、さまざまな病気で抗体医薬が使われるようになっています。［7］

国民医療費

日本国民が1年間に病気やけがの治療で、病医院・薬局（調剤）などに支払う費用の総額です。定率で患者さんが自己負担する費用は含まれますが、歯科自由診療や予約診療、いわゆる差額ベッド代などの費用は含まれません。また、正常分娩や健康診断の費用、大衆薬などの購入費も含まれません。［21］

さ行

再審査期間／再審査制度・再評価制度

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。この、通常8年間の期間を再審査期間といいます。また、再審査終了後に、現在の医学・薬学の進歩に合わせて、現在の学問的水準から医薬品の品質・有効性および安全性を見直そうとする制度が再評価制度です。 [2／17]

診断群分類別1日当たり定額払い方式（DPC：Diagnosis Procedure Combination）

米国で実施されているDRG/PPSを参考にして、新たに開発された日本独自の入院医療における診断群分類のことで、患者さんごとに傷病名、年齢、意識障害レベル、手術・処置の有無、副傷病名の有無などの治療行為を組み合わせたもの。このDPCを包括払い制と組み合わせたものを「DPC包括評価」といいます。DPCそのものは本来、診断群の分類方法を指しますが、現在では、これらの支払い方式を含めてDPCと呼ばれています。 [24]

診断群別定額払い方式（DRG／PPS：Diagnosis Related Group／Prospective Payment System）

DRGとは、米国で実施された国際疾病分類で、1万以上ある疾患の診断名を470に分類した診断群のことをいい、 PPSは、定額支払い方式のことで、1人当たりの医療費を診断群ごとに定めたもの。医療費高騰に悩む米国政府が医療費適正化や医療標準化の目的で老人入院患者を対象とする医療保険制度（メディケア）で採用しました。 [24]

新薬（先発医薬品／新医薬品）

医薬品医療機器等法第14条の4第1項の規定に基づき、すでに承認を得ている医薬品と比べ、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であって、厚生労働大臣によって製造販売承認されたものをいいます。さらに、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。 [2]

た行

治験

医薬品は、動物実験や臨床試験を行い、有効性や安全性を確認したうえで厚生労働大臣に製造販売承認の申請を行いますが、この承認申請を目的に実施する臨床試験を治験と称し、医薬品医療機器等法に定められています。この治験に供される被験薬および対照薬を治験薬といい、1997年から、治験薬GMPを遵守した製造が義務づけられています。 [7]

中央社会保険医療協議会（中医協）

厚生労働大臣の諮問機関で、診療報酬、薬価基準の算定方法、療養費などを審議します。健康保険組合、国民健康保険組合などの保険者ならびに被保険者、事業主の代表（支払側委員）7人、医師、薬剤師などの代表（診療側委員）7人、公益代表（公益委員）6人で構成されています。中医協を設置することとした社会保険医療協議会法の第3条の条文を用い、支払側を1号側、診療側を2号側、公益を3号側と呼ぶこともあります。 [4]

な行

日本医療研究開発機構（AMED：Agency for Medical Research and Development）

医療分野の研究開発を総合的に推進する司令塔機能として2015年4月に設立された内閣府所管の国立研究開発法人です。医療分野の研究開発の基礎から実用化までの一貫した推進体制の構築、成果の円滑な実用化に向けた体制の充実、研究開発の環境整備を総合的に行うことを目的としています。国が定める「医療分野研究開発推進計画」に基づき、医薬品、医療機器・ヘルスケア、再生・細胞医療・遺伝子治療等6つの統合プロジェクトを中心とする研究開発を推進しています。 [53]

日本薬局方

医薬品医療機器等法第41条により、医薬品の性状および品質の適正を図るため、厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて定めた医薬品の規格基準書。 [2]

は行

ハイスループット・スクリーニング（HTS：High-Throughput Screening）

新薬を開発するための検体の評価技術のひとつ。新薬の候補となる多数の化合物の生物活性（受容体への結合や酵素活性阻害など）を、機械化により高速かつ大量に調べられるシステムが開発され、スクリーニングにかかる時間が大幅に短縮されるようになっています。近年では、遺伝子やタンパク質の機能解明などにも利用されています。 [9]

物質特許

一定の使用目的を持った新規化学物質に対して与えられる特許権。1976年1月1日より実施されました。ほとんどの先進国では物質特許を採用しています。 [13]

プレシジョン・メディシン

患者さんの個人レベルで最適な治療方法を分析・選択し、それを施すことで、最先端の技術を用い、細胞を遺伝子レベルで分析し、適切な薬のみを投与し治療を行います。日本語では「精密医療」などと呼ばれる概念です。遺伝子レベルでがんを解析し、そのがんにあった治療を行う先端治療の考え方である「がんゲノム医療」も同義で使用されます。 [44]

プロテオーム解析（proteome）

protein（タンパク質）とgenome（ゲノム）を組み合わせた造語で、細胞中に含まれる全タンパク質について、構造や機能を網羅的に解析することをプロテオーム解析と呼びます。病態と正常の細胞中のプロテオーム解析結果を比較することで、疾患に関係しているタンパク質を見出すことができ、二次元電気泳動法や質量分析装置などが解析方法として用いられています。 [9]

保険薬局

健康保険法に基づく療養の給付の一環として、保険調剤業務を取り扱う薬局をいいます。所在地の地方社会保険事務局から、保険薬局としての指定を受ける必要があります。 [22]

や行

薬事・食品衛生審議会

厚生労働大臣の諮問機関。医薬品に関しては、医薬品部会、薬事分科会で、新薬の承認審査、医薬品の再審査・再評価、安全性の審査などを実施します。 [10]

ら行

レギュラトリーサイエンス

「科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学」とされています。科学的知見と、規制などの行政施策・措置との間の橋渡しとなる科学であり、科学的知見を得るために行う研究（Regulatory Research）と、得られた科学的知見に基づいて施策を決定する行政（Regulatory Affairs）を包含しています。 [60]

2. 製薬協からの情報発信（ウェブサイト）

製薬協では、医薬品と製薬産業に関する理解を深めていただけるよう積極的な情報発信を行っています。くすりや製薬産業に関する情報、製薬協に関する情報、製薬協からのメッセージをタイムリーにお届けします。

■日本製薬工業協会

https://www.jpma.or.jp/

■医薬産業政策研究所

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

製薬産業のシンクタンクとして機能する医薬産業政策研究所から、「政策研ニュース」「リサーチペーパー」「産業レポート」が刊行されており、政策研ウェブサイトを通じても公表しています。

くすりについて

会員会社の「くすりの相談窓口」や「くすりの情報 Q&A」など、患者さん・一般の方向けのおくすりガイドを掲載しています。

患者さんとともに

患者さんが必要とする情報にスムーズにアクセスできるように「疾患情報リンク」や「くすりの情報リンク」など患者さんのための情報環境の整備・充実に努めています。

くすりを学ぼう

一般の方、小中学生の皆さんに向けて、「くすり研究所」や「見学できる施設一覧」など、くすりに関して役立つ情報を掲載しています。

イベント・メディア向け情報

「ニュースリリース」や各種イベント、会見などの情報を掲載しています。

小中学生のためのくすり情報「くすり研究所」

3. SNS 公式アカウント

製薬協の取り組みや展開するイベントの情報について発信しています。今後、製薬協ウェブサイトと SNS を連動させた広報イベントを企画していきます。

■ Twitter

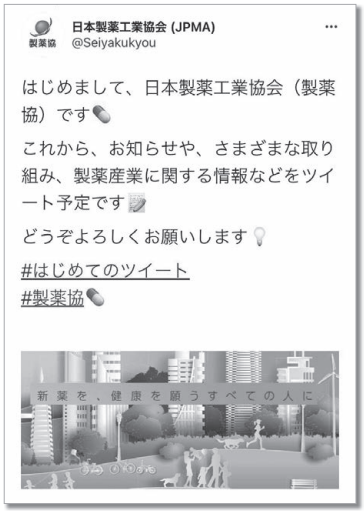
https://twitter.com/seiyakukyou

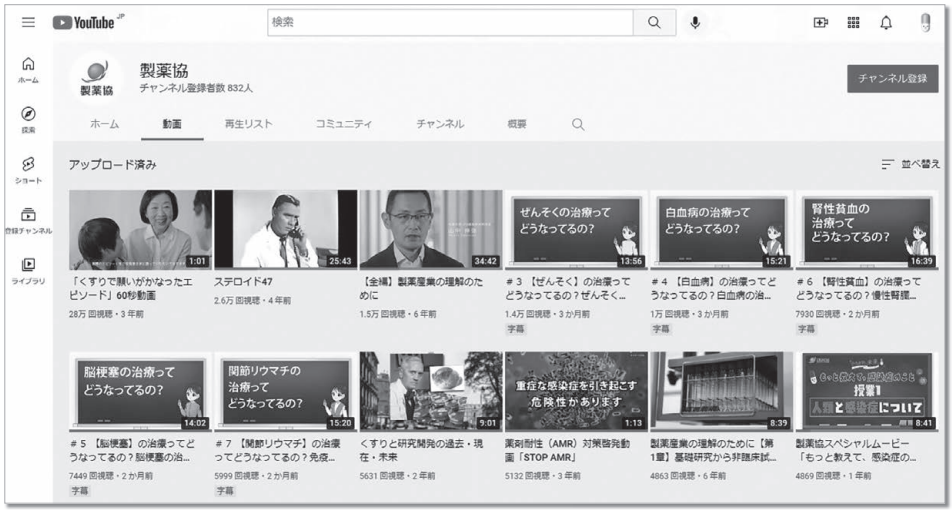
製薬協では、2022 年 2 月に Twitter の公式アカウントを開設しました。協会から発信するニュースや取り組みについてご紹介するほか、製薬産業に関する情報などを発信しています。

■ YouTube

https://www.youtube.com/channel/UCaQ0-gUGYxRSY5v2hVByS4g

YouTube の公式チャンネルでは、「くすりと研究開発の過去・現在・未来」や「薬剤耐性（AMR）対策啓発動画」、「薬学生あおいと学ぶ 新薬イノベーション」など、製薬産業の理解促進のための動画コンテンツをご覧いただけます。

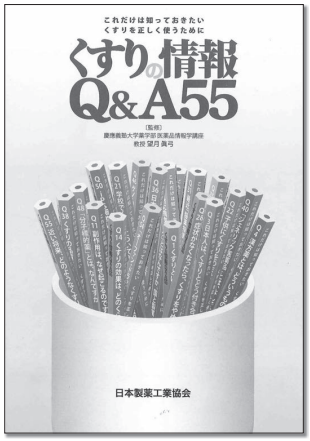




4. 製薬協の主な刊行物

製薬協では、くすりに関する正しい理解を深めるための刊行物のほか、製薬協の活動をわかりやすく伝える「製薬協ニューズレター」を発行しています。

製薬協ニューズレター
（ダイジェスト版）

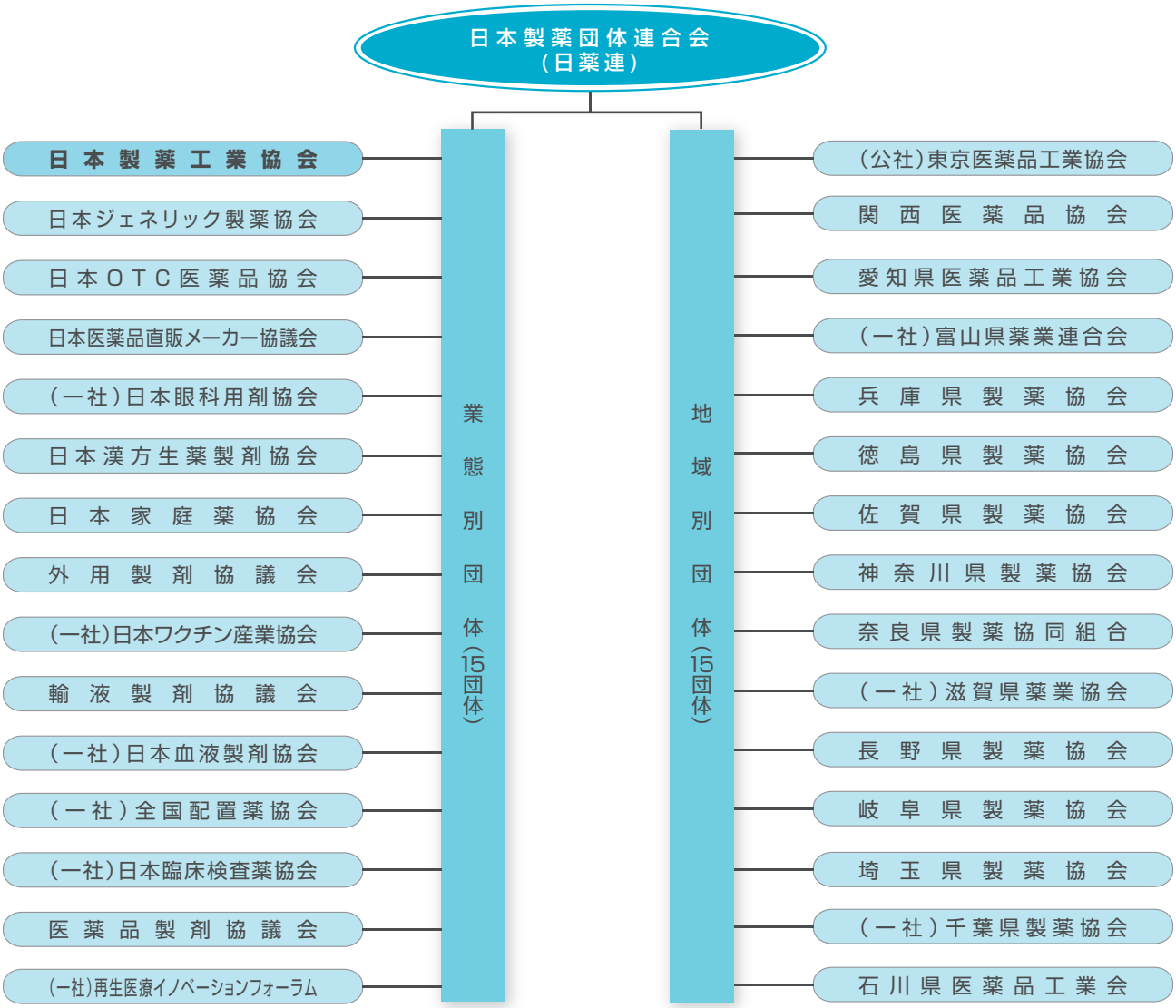


くすりの情報 Q&A55

もっと知りたい！新薬のこと

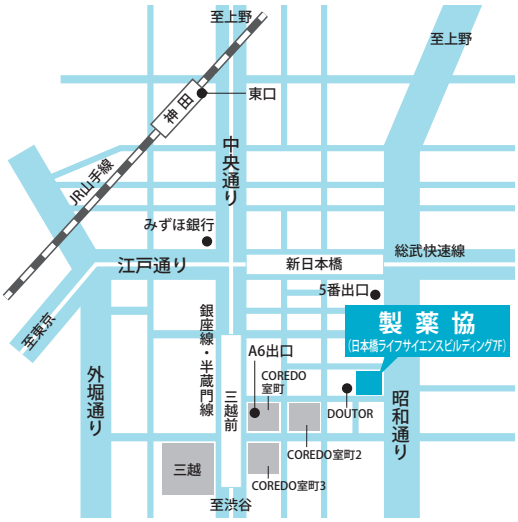
製薬協ガイド

5. 主要な業界団体および関連機関・団体名



日本製薬工業協会（製薬協）
Japan Pharmaceutical Manufacturers Association（JPMA）

日本製薬工業協会（製薬協）は、病院などの医療機関で使用される医療用医薬品を対象とした新薬の開発を通じて社会への貢献を目指す、研究開発志向型の製薬会社71社（2022年10月）が加盟する任意団体です。製薬産業に共通する諸問題の解決、医薬品に対する社会的理解を深めるための活動、医薬品の国際化をめぐる環境整備など、多面的な事業を展開し、製薬産業の健全な発展に取り組んでいます。



製薬協

日本製薬工業協会

〒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 7階
TEL.03-3241-0326（代表）　FAX.03-3242-1767

http://www.jpma.or.jp

製薬協のウェブサイトもご覧ください。

企画・編集／日本製薬工業協会広報委員会
発行／一般財団法人　日本医薬情報センター

（無断転載はお断りします）