医薬産業政策研究所

政策研ニュース No.59

OPIR Views and Actions

2020年3月

目　次

Opinion

「活薬」のための「Right」をあらためて考える　～医薬品の価値の顕在化・最大化を目指して～
医薬産業政策研究所　主任研究員　田村　浩司……1

“Pharma as a Service”の実現に向けて
～データ駆動型ヘルスケアにおいて医薬品産業に求められるもの～
医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之……6

目で見る製薬産業

2019年に日本で承認された新医薬品とその審査期間
医薬産業政策研究所　主任研究員　澁口　朋之
主任研究員　粟村眞一朗……12

希少疾病用医薬品（Orphan drug）の開発動向
－FDA で承認された Orphan drug の日本での開発状況の分析－
医薬産業政策研究所　主任研究員　粟村眞一朗
主任研究員　橋本絵里子
主任研究員　澁口　朋之
統括研究員　村上　直人……19

アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況　－2019年の動向－
医薬産業政策研究所　主任研究員　橋本絵里子……24

新薬の小児適応に関する日米比較　医薬産業政策研究所　統括研究員　村上　直人
医薬産業政策研究所　主任研究員　粟村眞一朗
医薬産業政策研究所　主任研究員　橋本絵里子
医薬産業政策研究所　主任研究員　澁口　朋之……30

Points of View

新薬を生み出し育てるライフサイエンスクラスターとは
～ボストンのイノベーション・エコシステムからの示唆～
医薬産業政策研究所　主任研究員　鍵井　英之……33

医療情報の更なる利活用に向けて　～個人情報保護の観点から～
医薬産業政策研究所　統括研究員　森田　正実
医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之
医薬産業政策研究所　主任研究員　中塚　靖彦……40

英国 NICE の評価から見る医薬品の価値の多面性　－希少・難治性疾患用薬の分析から－
医薬産業政策研究所　主任研究員　中野　陽介
東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学　客員准教授
横浜市立大学医学群健康社会医学ユニット　准教授　五十嵐　中……47

Topics

ヘルスケア分野のエコシステムについて考える　－データエコシステムの論点－
医薬産業政策研究所　統括研究員　森田　正実……52

ヘルスケアサービスへのアクセスに関する国内民間医療保険の新動向
医薬産業政策研究所　主任研究員　枡田　竜育……59

政策研だより

主な活動状況（2019年11月～2020年２月）……65

Opinion

「活薬」のための「Right」をあらためて考える
～医薬品の価値の顕在化・最大化を目指して～

医薬産業政策研究所　主任研究員　田村浩司

１．はじめに：「活薬」のための５つの「Right」

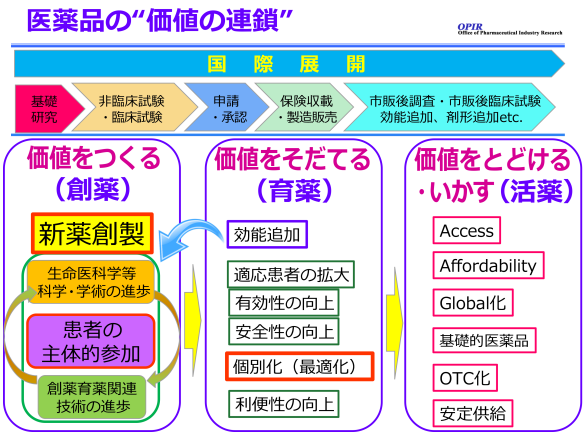
医療や医薬品に関する取り組みについて、いくつかのキーフレーズが知られている。例えば日本医療研究開発機構（AMED）では『生命・生活・人生の「３つのLIFE」を大切にした医療分野の研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんやご家族のもとにお届けすること』[1]が、医薬品医療機器総合機構（PMDA）では『４つの「F」（Patient First、Access First、Safety First、Asia First）に率先して取り組むこと』[2]が、それぞれ提唱されている。日本製薬工業協会（製薬協）では『産業ビジョン2025』（2016年１月公表）で、『先進創薬で次世代医療を牽引する「Ｐ４＋１」医療への貢献』を掲げている[3]。Ｐ４＋１医療とは、米国で10年ほど前に登場したＰ４医療＝『予測を立てて（predictive）個人に合わせて（personalized）、予防的で（preventive）参加型の（participatory）医療を実践すること』に、進歩的･高度化（progressive）を加えたもの[4]で、「我々は、Ｐ４医療とProgressiveな医療の双方に資する創薬イノベーションの実現を目指し、両者を融合した次世代医療「Ｐ４＋１医療」に貢献し、さらには先進創薬により牽引していくことをビジョンとして掲げた。」としている。

これらの（広義の）創薬活動に着目したフレーズに対して、医療現場で用いられるものとして、「５R」＝５つの「Right」がある。使う人・場面によってRの順番は固定されていないようだが、一般に(1) Right Drug（Medication）、(2) Right Patient、(3) Right Dose、(4) Right Route、(5) Right Time（& Frequency）の５つが挙げられており、医療従事者の投薬時における患者の安全性確保の目的で多く用いられているようである[5]。

筆者は昨年５月に公表した政策研リサーチペーパーNo.73『「医薬品の価値」をあらためて考える』のなかで、医薬品の“価値の連鎖”として「価値をつくる（創薬）」→「価値をそだてる（育薬）」→「価値をとどける／いかす（活薬）」の３つの段階を考え、「活薬」＝創製された医薬品の価値を適切にお届けし適切に使用していただくことにより医薬品の効能・効果を正しく発揮させることの結果として、その価値が顕在化され最大化されると表現した（図１）[6]。この「活薬」のためには、製薬企業など提供者側は当該患者さんに有効・有用な「モノ（としての医薬品）」＋「（必要な）情報」を適切に患者さんに届けることが、使用者側（患者さん＋場合により介助者や医療従事者も）には適切な使用法を守ってお使いいただくことが、それぞれ必要となる。医学医療や診断等の技術進歩や新モダリティ等による（広義の）薬物治療法の

１）https://www.amed.go.jp/pr/kenkyujigyoseika.html
２）https://www.pmda.go.jp/about-pmda/outline/0019.html, https://www.pmda.go.jp/files/000233723.pdf
３）http://www.jpma.or.jp/about/jpma_info/pdf/industry_vision2025_03.pdf
４）「製薬産業を取り巻く現状と課題～よりよい医薬品を世界へ届けるために」政策研産業レポートNo.５（2014年12月）
５）「５R」に「right purpose」を加えて「６R」とされることもある。
６）『「医薬品の価値」をあらためて考える』政策研リサーチペーパーシリーズNo.73（2019年５月）
http://www.jpma.or.jp/opir/research/rs_073/article_073.html

図１　医薬品の“価値の連鎖”



出典：政策研リサーチペーパーNo.73『「医薬品の価値」をあらためて考える』を一部改変

進化などにより、“個別化医療”“適正医療”への取り組みの重要性が一層増している。そこで本稿ではこれらのために必要とされる取り組み等について、「５R」を切り口に整理しながら、薬の価値を正しく発揮させる「活薬」のために必要なことについて、あらためて考えてみたい[7]。

２－１．Right Drug（Medication）：適切な薬剤を創製すること＋選択すること＋届けること

あたりまえではあるが、実際には必ずしもあたりまえに実現しているとはいえない。従来型の創薬プロセスにおける第３相臨床試験（検証的試験）では基本的に、当該薬物投与群（＝集団）と対照群（＝これも集団）の薬効を適切な評価指標を用いて比較し、統計的有意差があることをもって「薬が効く」と決めている。しかし、この（主語がない）「薬が効く」と、特定の具体的な個人に「薬が効く」は、同じではない。換言すれば、患者集団でみた場合の（平均的な）薬の価値に対して、特定の個人にとっての薬の価値は一人ひとりで異なり、当該個人に対して実際に当該薬剤の効果があれば、結果として「価値がある」が、そうでなければ結果として「価値がない」（場合によっては害にもなりうる）ことになる。Right Drug（Medication）とはしたがって、現実に存在する特定の、そして多様な患者一人ひとりにとって「Right」であること（Personalized Medicine）が求められている。創薬活動において新しいモダリティの利用など新たな技術革新等を踏まえた「Right Drug」創製に日々努力が続けられているのはもちろん、Right Drug／Right Patientを決めるためのツールであるコンパニオン診断薬の開発・利用や遺伝子パネル検査も実用段階に入っており、全ゲノム検査もそれほど遠くない将来の実用化が期待される（２－２も関連）[8]。

２－２．Right Patient：適切な患者（適用対象者）が選ばれること＋患者が適切な（服薬）行動をとること

２－１で、「Right」な薬剤が届けられることは、患者側からいえば当該薬剤からみて「Right」な患者であるということになる。最近の抗がん剤などの創薬手法が代表的といえるが、患者の病態改善に結び付く薬効標的（遺伝子や分子等）のプロファイルを明確に定めた上で薬物候補物質を創出・開発することが主流であり、この場合は予め対象患者のプロファイリングがなされていることになるため、必然的に開発段階から「Right」な患者が明確になっていることが多い。

一方で、患者は当該薬物の作用機序（pharmacodynamics、薬力学・薬理作用学）や吸収・分布・代謝・排泄といった体内動態（pharmacokinetics、薬物動態学）などを理解した上での適切な服薬を遵守することが求められる[9]（次項以降で詳述）。（標準の用法・用量を基に患者一人ひとりの体質等

７）文中で使用する専門用語（jargon）の一部については、医学薬学に必ずしも精通しない方にも内容が理解しやすいよう、厳密な科学的定義以外の使い方をする場合がある旨、ご容赦願いたい。
８）厚生労働省「全ゲノム解析等実行計画について」（令和元年12月20日）https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_08564.html
９）薬機法第一条の六（国民の役割）では「国民は、医薬品等を適正に使用するとともに、これらの有効性及び安全性に関する知識と理解を深めるよう努めなければならない。」とされている。この項は、2013年の法改正時に新たに追加された。

プロファイルにあわせて投与量などを適宜調節することで設定される）当該個人用の処方の意味を十分理解した上で、服薬遵守することで、当該薬剤が「活薬」する＝価値がただしく発揮されることになる。しかしながら実際には、「言うは易し、行うは難し」。服薬アドヒアランス[10]を高めるには、(処方の意味を理解した上で）自ら積極的に治療を行うという意識を患者自身が持つことが望ましい。また実用上の補助手段として、物理的に正しい服薬を促す仕組みがあれば、単純な飲み忘れは防止できる可能性が高いと考えられ、スマートフォンを活用した服薬お知らせサービス（アプリ）などが登場している。

もちろん、服薬アドヒアランスを高めるために創薬側でも工夫をしている。わかりやすい例が服薬回数（頻度）を減らす徐放性製剤であり、血中の有効成分濃度の急激な上昇を避けることで副作用の発生頻度を下げることも期待できる。

２－３．Right Dose：有効かつ安全な用量を設定すること

添付文書、患者向け医薬品ガイドでは「用法・用量」の項で、くすりのしおりでは「この薬の使い方」の項で、それぞれ情報が記載されている。薬はしばしば、「両刃の剣」あるいは「クスリはリスク」などという言い回しがされる。薬物は基本的に、服用量（厳密には患部における薬物濃度や血中薬物濃度）が不足すれば効かないし、過剰であれば毒になる性質がある。臨床試験を通じて標準的な用量（常用量）が定められるが、体の大きさや薬物代謝能など、体質等が個々人で異なることから、これにあわせて個別に適正な用量（至適用量）が設定される必要がある。そのためには薬物自身の性能と患者のプロファイルの両方をできるだけ詳細に把握する必要があるが、現実にはそれだけでは不十分で、実際に治療を継続しながら投薬量を都度調整していく（いわゆるPDCAサイクルを回す）ことで、当該患者における至適用量が調整される。よって、治療中の薬効発現状況や安全性状況を正確に把握することが重要となるが、例えば月に一度の診察時のみに得られる問診＋検査値情報だけでは情報が不十分なおそれがある。これまでも、治療有効域の狭い薬剤や中毒域と有効域が接近していて投与方法・投与量の管理の難しい薬剤では、治療薬物モニタリング（Therapeutic Drug Monitoring）[11]という手法で個々の患者に適した投与設計を行い、適正な薬物療法が実施されてきたが、今後は例えばICT（バイオセンサーなど）を利用した各種生体指標の頻回モニタリングと記録（PHRなど）を活用した治療効果の検証による至適用量の設定や、さらにはAIも活用した至適用量設定も可能になるかもしれない。

一方、創薬側の観点からは、できるだけ少量で有効な薬物の開発や用量調節用の多規格化に加えて、いわゆる安全域（治療指数）[12]の広い薬剤の開発が有益となる。薬物そのものの安全域の広さ以外に、製剤工夫により（広義の）安全域を広くすることも可能な場合がありうる。経口剤や注射剤は一度投与してしまうと回収（投与取り消し）が困難であるが、貼付剤（経皮吸収型製剤）であれば、用量の増減調整や投与の中止がしやすい。

10）「医療者の指示に患者がどの程度従うか」という服薬コンプライアンスの概念に対し、治療におけるパートナーシップとして患者自身が治療に積極的に関わる意味での服薬遵守を図る言葉。アドヒアランスを規定するものは治療内容、患者側因子、医療者側因子、患者・医療者の相互関係という点でコンプライアンスとは大きく異なる。参考：日本薬学会「薬学用語解説」https://www.pharm.or.jp/dictionary/

11）①薬物体内動態の把握、②医薬品の適正量の投与、③多剤併用の可否、④中毒・副作用の早期発見、⑤ノンコンプライアンス（指示どおりの服薬をしないこと）の確認などをして、適正な薬物療法が行える。対象薬剤には、治療有効域の狭い薬剤や中毒域と有効域が接近し、投与方法・投与量の管理の難しい薬剤（例：気管支拡張薬「テオフィリン」）が挙げられる。
参考：日本薬学会「薬学用語解説」https://www.pharm.or.jp/dictionary/
TDM 対象薬の例：http://www.pharm.kumamoto-u.ac.jp/Labs/clpharm/database/docs/tdm01_20160902.pdf

12）薬学用語上は、「50％致死量（LD50）／50％有効量（ED50）」と定義されるものだが、概ね「有効かつ安全に使用できる用量の幅の大きさ」と考えて問題ない。

２－４．Right Route：適切な使用法・経路で服薬すること

こちらも添付文書と患者向け医薬品ガイドでは「用法･用量」の項で、くすりのしおりでは「この薬の使い方」の項で、それぞれ情報が記載されている。用法と用量をうまく組み合わせて、患部における薬物濃度や血中薬物濃度が治療有効域に維持され目的とする薬効を適切に発揮させるべく、薬剤毎にさまざまな工夫がなされている。したがって、設定された用法・用量を守って服薬することが大切である。特に、カプセルを外したり徐放剤を砕いたりといった、製剤工夫がされている薬剤を服薬者側で手を加えてしまうことは、目的とする薬効が得られないばかりか、副作用が発現するおそれもあるため、厳禁である。この点についても、用法の意味を服薬者がよく理解していれば不適切な行為を避けることができる。また、専門家にはあたりまえである、経口剤は水やぬるま湯で飲むことや、服薬し忘れてしまった場合の対応などについても、一般の方にはそうではないことから、正しい理解を得る必要がある[13]。

一方、創薬側の観点からは、服薬者が不適切な用法をとらないような薬剤開発が求められる。例えば、大きなカプセル剤などが飲みにくいという理由で「分解」してしまうことも考えられる。高齢者では嚥下（飲み込み）機能が低下することが多いため、特に高齢患者が多い疾患の治療薬では飲み込みやすい剤形の開発・提供は必須だろう。また注射剤では投与時に痛みを伴うため、使いにくいこともあるだろう。服薬者が自然と適正使用できるよう、可能な限り製剤工夫を継続していくことが求められる。

なお、「食間」「座薬」など、一般の方に誤解を招きかねない用語については、別の表現を使うほうがいいかもしれない。

２－５．Right Time（& Frequency）：適切なタイミング・回数で服薬すること

服薬のタイミングや頻度は、「用法」のもう一つの重要な要素である。目的とする薬効を適切に発揮させるように、また副作用が現れる薬剤の場合には、副作用が日常生活の質（QOL）に与える影響などをできるだけ少なくするように、いつ（どのタイミングで）、どの程度の頻度で服薬するかは重要である。抗アレルギー薬や解熱鎮痛薬など、OTC薬でも注意が必要なものがある。２－４でも触れたが、服薬し忘れてしまった場合の対応などについても正しく理解していただくことで、副作用発現回避に結び付くかもしれない。

服薬者が服薬タイミングなどをあまり気にせずに使用できる薬剤を提供できれば、服薬に関するヒューマンエラーの減少が期待でき、安全確実な薬効発現の観点から利便性が高いと言うこともできるだろう。

３．「Right Information & Education」の追加提案：正しい理解に基づく正しい服薬治療のために「くすりは正しく使ってこそくすり」も考えたい

製薬企業はこれまで、医薬品の創製･提供を「いいモノをいいサービスで」行うことで医療に貢献してきたが、一方ではこれまで述べてきたように「くすりは正しく使ってこそくすり！」[14]である。この「正しく使う」ことについては、製薬産業側ではともすれば医師や薬剤師など医療従事者へお任せにしていた部分もあったかもしれない。薬機法その他の法規制上、製薬企業が主体的に直接患者へ情報提供が行えない場合もあるものの、患者利益のために工夫の余地はまだあるように思われる。また、日本では公的機関による質の担保された薬剤情報提供がまだまだ少ないといわれており、正しい情報提供の仕組みの整備が求められる[15]。

13）患者向け医薬品ガイドやくすりのしおりにはこれらの説明の記載があるものの、必ずしも十分に理解が得られていないと考えられる。

14）日本薬剤師会・くすりの適正使用協議会　https://www.nichiyaku.or.jp/pharmacy-info/use/link01.html

15）参考：日本インターネット医療協議会「インターネット上の医療情報の利用の手引き」https://jima.or.jp/riyoutebiki.html

マスメディアに対しても、一定の専門的知識を基に一般の方々へ正しくわかりやすい情報を提供いただく機能を期待したい。

加えて、医療や医薬品に関する基礎知識の向上には、くすりに関する学校教育や市民啓発活動の充実も有益だろう。2012年４月から中学校でのくすり教育が義務化され、高等学校では、2013年度から学年進行でより踏み込んだ内容の医薬品教育が実施されている。くすりの適正使用協議会、日本製薬工業協会、日本 OTC 医薬品協会の３団体では共同で、高等学校での医薬品教育への支援として DVD 教材を作成し、日本薬剤師会所属の学校薬剤師を通じて全国約5,000校の高等学校に無償で配布している[16)]。

また日本薬剤師会ではくすりの適正使用協議会の啓発資料をベースに、「くすりの正しい使い方」に関する「小学生向け」と「中学・高校・一般向け」の２種類の教材を作成し、薬剤師による児童・生徒や地域住民を対象とした講習会等で活用されている[17)]。

製薬企業の取り組み事例としては、2015年10月に塩野義製薬の従業員有志が立ち上げた「コミュニケーションバリアフリープロジェクト（CBF-PJ）」がある[18)]。『「最もよい薬」に必要な「情報」を、すべての患者さんに』というコンセプトを基づき、主に聴覚に障がいのある患者さんを取り巻くバリアをなくす取り組みが進められているとのことであり、「くすりは正しく使ってこそくすり！」と軌を一にする活動といえるだろう。

４．おわりに

上記のように、医薬品の適正使用に向けた各側の取り組みは、医薬品の価値の向上に直結する。直近では製薬協は各関係者とともに、Patient Centricity に基づく活動やポリファーマシー問題の解消に向けた取り組みなどを進めている[19)20)]。「５＋１R」を通じた患者中心の医療や適正使用の推進で、「活薬」が進むことを大いに期待したい。

16）http://www.jpma.or.jp/junior/dvd/, http://www.jpma.or.jp/event_media/forum/repo_37.html
17）https://www.nichiyaku.or.jp/pharmacy-info/use/link02.html, http://www.rad-ar.or.jp/use/kusuri-gb/index.html
18）http://www.shionogi.co.jp/company/csr/act/cbf/index.html
19）製薬協会長記者会見（１/27）資料 http://www.jpma.or.jp/event_media/release/pdf/20200127.pdf
20）患者の声を活かした医薬品開発を目指して　製薬企業での Patient Centricity に基づく活動（ファルマシア、2020年２月号）

Opinion

“Pharma as a Service”の実現に向けて
～データ駆動型ヘルスケアにおいて医薬品産業に求められるもの～

医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之

はじめに

筆者は前号にて、データ駆動型ヘルスケアにおける「開かれたデータ」の重要性、ヘルスデータエコノミーにおける医薬品産業の役割等について論点を紹介した[1)]。データ駆動型社会で価値の源泉となるのがデータである、という視点から医薬品産業を俯瞰した場合、どのようなデータを提供しうるか、更にはサービス産業として医薬品産業がどのような価値を提供しうるか、という観点が発生する。デジタル化時代に、医療・ヘルスケアサービスをつなぐのは、まぎれもなくデータである。そして、これまでは臨床データやレセプトデータ、あるいは副作用情報といったデータを受け取る「データユーザー」であった医薬品産業も、ヘルスケアにおいて更なる価値を提供するにはデータプロバイダーの役割をも視野に入れることが求められる、という点を指摘した。

では、サービス産業としての医薬品産業は、果たしてどのような価値を提供しうるのか。本稿では、他産業における「as a Service」の目指すものも踏まえつつ、医薬品産業がどのような「as a Service」を提供できるのか、考えてみたい。

他産業にみる「as a Service」

(1)　Mobility as a Service

「as a Service」の語が我が国で知られるようになったのは、ソフトウェア業界が必要な機能を必要な分だけサービスとして利用できるようにし、インターネット経由でこれを提供しはじめたSaaS（サース、Software as a Service）であろう。2008年には、経済産業省が「SaaS向けSLA（Service Level Agreement）ガイドライン」を定め、利用者とサービス提供者間が事前に合意すべき事項や望ましいサービスレベルに関する指針を示しており[2)]、ここ10年程度の間にSaaSの語も普及した感がある。

近年は様々な産業で「as a Service」の語を目にする機会も増えており、例えば移動関連産業では「MaaS（マース、Mobility as a Service）」という概念が使われだしている。国土交通政策研究所の露木によれば、MaaSは発達中の新しいサービスであり、先行する海外でも定まったものがないのが現状ではあるが、ICTを活用して交通をクラウド化し、マイカー以外のすべての交通手段によるモビリティを１つのサービスとしてとらえ、シームレスにつなぐ新たな「移動」の概念、とされている[3)]。また、日本政策投資銀行からは、スウェーデンの研究者による統合の程度に応じた段階分けが紹介されており、複数モードの交通提案や価格情報の提供といったレベルに始まり、予約や決済の統合や公共交通機関以外の手段の統合が進み、最上位のレベル４は政策の統合となっている[4)]。

1）政策研ニュースNo.58「デジタルヘルスの進展から未来の医薬品産業を考える －「データ駆動型ヘルスケア」の一員として－」（2019年11月）
2）SaaS向けSLAガイドライン（経済産業省）（2008年１月）
3）MaaS（モビリティ・アズ・ア・サービス）について　国土交通政策研究所報第69号 2018年夏季
4）MaaS（Mobility as a Service）の現状と展望　日本政策投資銀行産業調査部（2018年11月15日）

図１　MaaS のレベル分類（日本政策投資銀行 産業調査部発表資料[4] より筆者改変）

段階	分類名	概要
4	Integration of policy （政策の統合）	都市計画やインフラ整備、インセンティブなどの施策が交通政策と一体となって立案されている。
3	Integration of the service offer （サービス提供の統合）	MaaSオペレータが、事業者の垣根を越えて、各移動手段が一元化したパッケージを利用者に代理提供する。
2	Integration of booking & payment （予約、決済の統合）	一元化された情報のもとで選択した交通手段等の予約・発券・決済がアプリ等で一括して行える。
1	Integration of information （情報の統合）	各交通手段（モード）の利用料金・経路等の情報が一元化されて表示されることで、最適な移動手段の選択が容易になる。

統合の高度化がすすむにつれ、小売、宿泊、医療・福祉、観光といった他産業との連携や、混雑ルートからの需要分散や価格設定による交通誘導といったリアルタイムでの最適化、更には人流データ収集によるバス路線の再編や、都市計画、インフラ整備、インセンティブ施策への利用などが想定されている。

もちろん、こうしたサービス提供の前提には、移動等に関するあらゆるデータの収集と統合がある。そしてここで大切なのは、様々なデータを共有、統合することで、当事者企業の利潤や生活者の利便性だけでなく、周辺産業の活性化や公益性の高い価値の創出をも目指している点である。

(2)　民間保険業界にみるプラットフォーム、データプロバイダーの視点

本題に入る前にもうひとつ、当局に規制される産業でありながら「データ駆動型サービス産業への転換」を進めつつある産業として、民間保険の例を紹介したい。

民間保険は元来、法による規制が強く、他社との差別化が困難な産業であったが、2006年から約10年の間に段階的に進んだ保険業法上の規制緩和（保険グループ規制、相互会社規制、保険商品規制、保険募集規制、資産運用規制）により、多様なビジネスモデルを生み出すことが可能となった[5]。そしてこれら規制緩和とともに、健康問題の浮上に伴う支払機会の増加、自動運転の発展など「もしも」の少ない社会の到来、シェアリングエコノミーや顧客主導型のリスク対応といった環境変化が進むなか、デジタルツールの特性（特に常時接続性、更に言えばタッチポイントの獲得）を活かし、データ収集/提供プラットフォームの構築やプラットフォームの他分野への提供を開始する企業も増えてきた。

例えば、民間保険の分野で時価総額世界１位の平安保険（中国）は、2014年に設立した子会社の提供するオンライン診療アプリ「平安好医生（ピンアン・グッド・ドクター）」でも注目されている企業である。平安好医生は24時間のオンライン問診、病院・検査の予約、遠隔診療から処方薬の宅配までを一気通貫で実現するアプリである。2019年９月の同社の情報では、３億人のユーザーを抱え、１日あたりの平均相談件数は65万件、月間アクティブユーザーは6,270万人に達している[6]。3,000以上の病院や１万を超える薬局と連携し、提携病院を含めると3,000人以上の医師がオンライン診療に関わり、ここに AI 問診を導入することで、従来の５倍の速度での診療を可能とした[7]。このように平安好医生は、他に類を見ない優れたオンライン診療アプリであるとともに、e-コマース（Health mall）で医薬品、サプリメント、健康食品、医療機器等のネット通販にも取り組んでおり、売上の半分以上を占めているとされる[8]。すなわち、デジタルツールを活かして顧客タッチポイントを獲得し、e-コマースに誘導するプラットフ

５）「保険業法上の規制緩和」保険学雑誌 2017巻 639号
６）平安好医生 HP ９月23日付ニュースより（https://www.jk.cn/aboutUs/news/107）
７）IT ヘルスケア学会第13回学術集会 ソフトバンク株式会社 笹井氏の発表より
８）「平安保険グループの DX 戦略」野村総合研究所“Financial Information Technology Focus”（2019.６）

図２　SOMPO ホールディングスの掲げるデジタル戦略（中期経営計画より引用）

ォームを築くことで、複数のマネタイズモデルを組み合わせ、顧客（受診者）に対し複合的に価値を提供していると言えよう。

我が国の事例としては、SOMPO ホールディングスと住友生命の取り組みを取り上げたい。

SOMPOホールディングスは2019年、米国Palantir Technologies社と、ビッグデータ解析ソフトウェアプラットフォーム事業を展開する共同会社（Palantir Technologies Japan株式会社）を設立することを発表した[9]。図２に紹介するとおり、SOMPO はデジタル戦略が中期経営計画の主軸の１つであり、デジタル戦略により顧客接点を強化すること、デジタル対応力をコアコンピタンスとしたサービス産業となることを掲げている[10]。同社は日本の保険会社として初めてイスラエルにデジタル戦略拠点を開設、スタートアップと AI を活用した健康サービス開発に向けた実証実験を開始[11]するなどしており、IoT等により得られるデータを解析し、他産業へ活かそうという意図が読み取れる。

また、住友生命は2018年より、健康増進型保険「Vitality」の提供を開始した[12]。「Vitality」は米Discovery社が提供してきた保険サービスであり、加入者約1,000万人の行動データをもとに、行動経済学の理論を活用して個人の行動変容を図るものである。現在我が国ではまだサービス提供開始から１年しか経っておらず、データ蓄積の段階だが、保険料を安く維持したり「リワード」を獲得したりするためには Vitality 参加者は、運動データ、オンラインチェックデータ、健康診断データ、予防に関連する行動など様々なデータの提供が必要なスキームとなっている。住友生命にとっては、これまで「契約時」「もしもの時」「支払時」等に限られていたタッチポイントを Vitality の提供により拡充させられるメリットとともに、生活者のデータを収集できる環境が整ったことで、そのデータを活かしてさらに顧客に新たな価値を提案する基盤を獲得した、との見方もできるだろう。

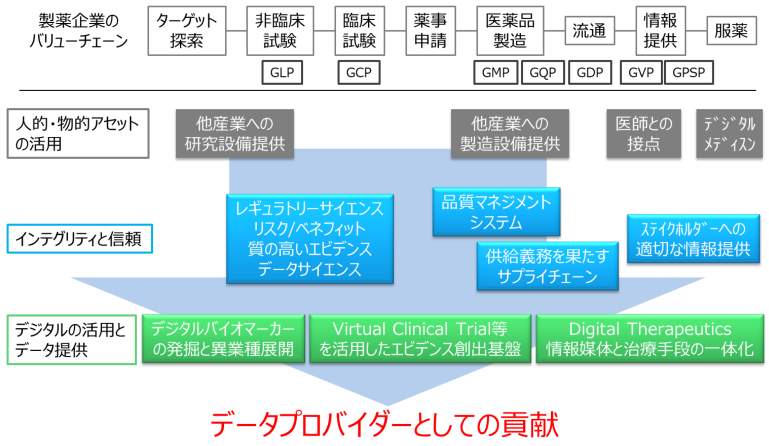
このように、いくつかの民間保険企業は、顧客とのタッチポイントを活かし/獲得し、保険の提供以外の新たなサービスの構築、模索を進めつつある段階にある。その中心にあるのはタッチポイントから得られる様々な顧客データであり、データプロバイダーとしてデータを様々な産業に循環させ、ビジネスとして成り立たせていくというデータエコノミーの思想が読み取れる。

Pharma as a Service の概念

それでは、医薬品産業がサービスプロバイダーとして提供しうるサービスには、どのようなもの

9）SOMPO ホールディングス株式会社ニュースリリース（2019.11.18）
10）「新中期経営計画（2016～2020年度）」損保ジャパン日本興亜ホールディングス株式会社
11）SOMPO ホールディングス株式会社ニュースリリース（2019. 1 .16）
12）住友生命保険相互会社ニュースリリース（2018. 7 .17）

図３　製薬企業のバリューチェーンと Pharma as a Service の例



が考えられるだろうか。本稿の冒頭で唐突に“Pharma as a Service”という語を提示したが、もう少しイメージを具体化してみたい。

(1)　人的・物的アセットの活用

医薬品産業のバリューチェーンは、図３に示す通りである。すなわち、創薬研究から始まり、非臨床、臨床試験を終え、薬事申請・承認を経て発売され、市販後にも安全性調査を行うという一連のフローが存在する。提供するサービスとしてまず考えられるのは、これらバリューチェーンを支える人的・物的アセットの他産業による活用があるだろう。例えば製造設備や付帯設備等を他産業に提供する（もちろん、医薬品産業、設備の提供を受ける産業双方が互いのレギュレーションを遵守する前提で）、MRの医師とのタッチポイントを医薬品以外の産業のマーケティングや情報提供機会に活かしてもらう、といった応用が考えられる。また、デジタルメディスンや服薬管理デバイスによる医療関係者の患者管理への貢献も、広義に捉えれば医薬品という「モノ」を活かしたサービスと言えるかもしれない。

ただし、こうしたサービスは既に存在しており、データの循環による価値創出という観点のサービスでは必ずしもない点に留意が必要である。

(2)　インテグリティと信頼

この他に考えられる点として、バリューチェーンの背景にある「インテグリティ」を他の産業に活かすという視点もあるだろう。公益性が高い医薬品産業は、これまでの長い歴史のなかで、レギュラトリーサイエンス、リスク/ベネフィットのバランス、データサイエンスや質の高いエビデンスの構築、品質マネジメントシステムの考え方、供給義務を果たすサプライチェーンの構築、ステイクホルダーに対する適切な情報提供といった観点で「フィロソフィ」をはぐくみ、これをあらゆるバリューチェーンでGXP[13]等として文書化、制度化し、定期的な教育訓練により産業文化として根付かせてきた。言い換えれば、*“高潔さ・誠実さと知性に裏付けられた、信頼性確保に向けた持続した意思”*としての『インテグリティ』は、医薬品産業の特性のひとつと表現できるだろう。

他方、現代社会にあっては、効果をうたうことが出来るか疑わしいヘルスケア製品、ディープフェイク[14]や公平性を欠くAIの登場など、必ずしも消費者のためにならない、あるいは消費者に誤った判断をさせるようなソリューションや情報が氾濫している。近年、AI倫理における FAT[15、16]（Fairness、Accountability、Transparency。公平性、説明可能性、透明性）、Data Free Flow with

13）医薬品・医療機器・医薬部外品・化粧品等の開発、製造、品質管理、製造販売後調査などに関し、安全性や信頼性を確保することを目的に政府等の公的機関が制定する諸基準。
14）機械学習を用いた画像合成技術により生成される偽の映像情報。
15）“ACM Conference on Fairness, Accountability, and Transparency”
16）「『人間中心の AI 社会原則』及び『AI 戦略2019（有識者提案）』について」内閣府（2019.4.17）

Trust[17]、エビデンスに基づくデジタルヘルス[18]、プラットフォーム提供企業の事業者要件[19] などの観点が注目を集め、議論されているのは、まさに生活者が「信頼（トラスト）」を求めていることに他ならない。インテグリティを産業の根幹に据えてきた医薬品産業は、こうした課題に対しても、例えば「健全なデジタルヘルスの普及に向けたレギュレーション/ガイドラインの策定・普及」「信頼（トラスト）に基づくデータ取扱い」といった観点から、強みを活かしていくことも可能であろうし、またそうしていくことも社会的役割として求められつつあるのではないか。

⑶　デジタルの活用とデータ提供

更に別の観点からは、異なる産業技術、特にデジタルテクノロジーと医薬品産業の強みを融合した場合、更に高い付加価値を提供できる可能性がある。例えば、近年はデジタルバイオマーカーの発掘が盛んだが、これは治療だけでなく、先制的介入や予後評価にも応用可能であるし、医薬品を中心とした医療だけでなく、ヘルスケアソリューション等の異業種サービスにも展開可能なものである。モダリティという語は機器の差異や医薬品のなかの分子の態様の違いとして表現されることが多いが、もう少し広い視野で考えると、医療・ヘルスケアのなかに「医薬品」「医療機器」「デジタルヘルス」といったモダリティが存在しているとも言えるだろう。こうした視点からは、今後は各モダリティを別個にとらえるのではなく、「インターモーダルな」連携、それもデータを介して様々なモダリティが連携することが価値を生む、とも考えられるのではないか。

また、昨今注目されているDigital Therapeuticsにしても、単に治療をデジタル化したもの、医薬品の代替手段と捉えるのではなく、患者と医師との接続性を高めて質の高い医療を提供できるようにする、あるいは患者の情報を研究に活かすためのタッチポイントを得るデジタルツールと捉えることにより、治療手段のひとつとしての役割を超え、新たな価値の提供を検討しうる素材としてみることが可能となるだろう。

一方でSociety 5.0[20]、データ駆動型ヘルスケアの観点からは、この段階まで到達してはじめて、医薬品産業はデータユーザーの立場を超え、データプロバイダーとしての役割を担うことが可能になる。「製薬企業がデータでビジネスをする」という表現に抵抗感を抱かれることもあるかもしれないが、今後のデータ駆動型医療・ヘルスケアでは、信頼に基づき、対価を伴った形でデータを循環させることが肝要であり、インテグリティをベースに公益を担ってきた医薬品産業もその一翼を担うことが期待されるようになるのではないか。

おわりに

本稿では、医薬品産業をサービスプロバイダーとして捉えた場合、どのような価値をステイクホルダーに提供しうるか、という点を、インテグリティやデータ駆動型社会の進展に関する視点も踏まえ、ごく簡単に論じた。特に今後進展の期待されるデータ駆動型ヘルスケアにおいては、医薬品産業も、データを提供することでより質の高い医療ヘルスケアの実現に貢献していくことが可能になるだろうし、またそのような役割を期待されるようになるだろう。しかしながら、サービスが医薬品という共通の「モノ」から離れて提供される場合、その考え方や実際に提供する「コト」は、医薬品企業や関連企業の数だけ存在するといっても過言ではないだろう。すなわち、自社の提供すべき顧客価値、サービス、value proposition を見定めるには、企業の根源的な存在理由に立ち戻り、

17）「デジタル時代の新たなIT政策大綱」高度情報通信ネットワーク社会推進戦略本部官民データ活用推進戦略会議（2019.６.７）
18）IQVIA 社「グローバルにおけるデジタルヘルス活用動向および医療経済効果」2018年度 IT ヘルスケア学会
19）「プラットフォームサービスに関する研究会 最終報告書（案）」総務省（2019.12.23）
20）総務省「平成30年版情報通信白書」によれば、Society 5.0とは「サイバー空間（仮想空間）とフィジカル空間（現実空間）を高度に融合させたシステムにより、経済発展と社会的課題の解決を両立する、人間中心の社会」とされる。

どのようなサービスが社会にとって必要かを、医薬品産業の外側、俯瞰的な視座から考えることも重要であろう。もちろん､忘れてはならないのは、その価値を評価するのは医療の受益者であり、ヘルスケア産業のステイクホルダーであり、社会全体そのもの、という点である。

医薬品産業は、サイエンス、テクノロジー、インテグリティといった要素をモノに結集し、高い付加価値を提供できる産業である。その持てる力を活かし、世界全体でどのようなヘルスケアニーズがあるかを的確にとらえ、サービスプロバイダーの立場にたったらどのような貢献が可能か。従来の産業の枠組みにとらわれることなく、国家全体でこうした議論が展開することを期待したい。

2019年に日本で承認された新医薬品とその審査期間

医薬産業政策研究所　主任研究員　澁口　朋之
主任研究員　粟村眞一朗

医薬産業政策研究所では、規制当局の公表情報をもとに、医薬品の承認情報および審査期間に関して継続的に収集、分析している[1)]。今回、2019年１～12月に日本で承認された新医薬品と新再生医療等製品の承認状況、およびその審査期間について調査したので、報告する。

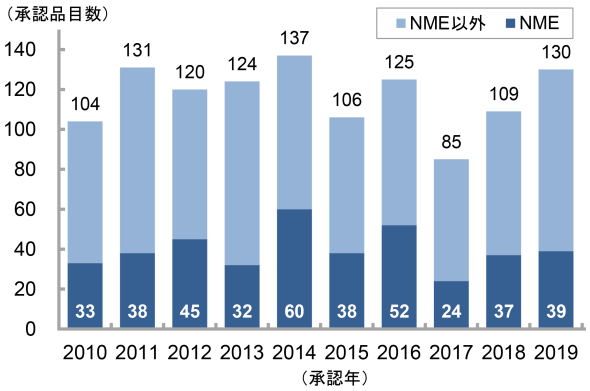
研究方法

調査の対象は、PMDAのホームページの「新医薬品の承認品目一覧」[2)]に掲載されている医薬品とした。品目は審査報告書毎にカウントすることを基本とし、学会等からの要望により同一成分の品目を複数の企業が同時に公知申請したような場合や併用薬物療法等にて複数成分が承認されたものは１つの品目として集計した。各品目の承認情報は、審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書および薬務公報から抽出した。解析には、標準的な統計解析ソフトStata/IC 14.0 for Windows（Stata Corp LP, College Station, TX, USA）を使用し、審査期間（申請日から承認日）を算出した。

新医薬品の承認品目数とその内訳

2010～2019年の10年間に日本で承認された新医薬品の承認品目数の年次推移を図１に示した。日本で2019年に承認された新医薬品の品目数は130品目で、2018年より21品目増加した。2010～2018年の平均承認品目数（116品目）より多い結果であった。そのうち、新有効成分含有医薬品（NME）は39品目が承認され、2018年と比較して２品目増加した。

図１　新医薬品の承認品目数の年次推移



出所：新医薬品の承認品目一覧（PMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

続いて、承認品目の内訳を表１に示した。申請区分別の内訳では、2019年は前述の NME の他、新効能医薬品は45品目、新用量医薬品は18品目であり、この数値は2018年より増加した。また、バイオ後続品（バイオシミラー）が８品目[3)]と、2018

1）医薬産業政策研究所.「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績」リサーチペーパー・シリーズ　No.69（2016年11月）
2）PMDA ホームページ「新医薬品の承認品目一覧」（https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0031.html）Accessed on Jan. 17th, 2020）
3）2019年はバイオ後続品（申請区分）として、ダルベポエチンアルファ３品目、ベバシズマブ２品目、エタネルセプト１品目、リツキシマブ１品目、テリパラチド１品目が承認されている。なお、腎性貧血治療薬ダルベポエチンアルファの後発品（協和キリンフロンティア）は先行品と全く同じ条件で製造されたバイオ医薬品（バイオセイム）であり、バイオ後続品としてではなく、通常の後発医薬品（オーソライズジェネリック）として承認を受けているため、本集計に含まれていない。

表１　新医薬品の承認品目の内訳（承認年毎；2010～2019年）

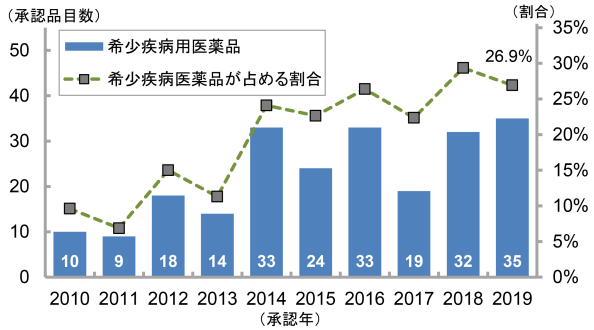
品目特性		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	Total
承認品目数		104	131	120	124	137	106	125	85	109	130	1,171
部会区分	部会審議品目	71	74	82	70	100	71	96	49	67	79	856
	部会報告品目	33	57	38	54	37	35	29	36	42	51	297
申請区分	新有効成分含有医薬品（NME）	33	38	45	32	60	38	52	24	37	39	398
	（%）	(31.7)	(29.0)	(37.5)	(25.8)	(43.8)	(35.9)	(41.6)	(28.2)	(33.9)	(30.0)	(34.5)
	新医療用配合剤	8	5	3	6	8	2	8	2	5	5	52
	新投与経路医薬品	7	5	8	7	8	2	6	4	4	6	57
	新効能医薬品	34	59	41	57	46	51	45	36	40	45	454
	新剤型医薬品	3	2	1	3	0	3	1	2	1	3	19
	新用量医薬品	16	22	20	16	8	9	11	14	15	18	149
	バイオ後続品	1	0	1	1	3	0	1	2	6	8	23
	類似処方医療用配合剤	2	0	1	2	3	0	1	1	1	1	12
	その他の医薬品	0	0	0	0	1	1	0	0	0	5	7
審査区分	通常審査品目	89	116	97	104	94	76	86	61	71	92	886
	優先審査品目	13	15	23	20	43	30	39	24	38	38	283
	うち、希少疾病用医薬品	10	9	18	14	33	24	33	19	32	35	227
	うち、希少疾病以外の優先審査品目	3	6	5	6	10	6	6	5	6	3	56
	うち、先駆け審査指定制度対象品目	－	－	－	－	－	－	－	－	3	2	5
	迅速処理品目	12	41	25	24	13	9	5	11	9	13	162
	うち、事前評価済公知申請品目	10	34	23	21	10	4	5	5	9	6	127

出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）、および薬務公報をもとに医薬産業政策研究所にて作成
注１：複数の申請区分に該当する品目は上位の区分に含めた。
注２：希少疾病用医薬品（HIVを除く）、HIV感染症治療薬、希少疾病以外の優先審査品目を「優先審査品目」とした。
注３：迅速審査品目および事前評価済み公知申請品目を「迅速処理品目」とした。
注４：希少疾病用医薬品かつ迅速審査品目は、希少疾病用医薬品の区分を優先し「優先審査品目」とした。
注５：2010年の特例承認２品目（乳濁細胞培養A型インフルエンザHAワクチンH1N1「ノバルティス」筋注用、アレパンリックス（H1N1）筋注）は通常の審査プロセスと異なるため、優先、通常には分類せず承認品目数にのみ含めた。
注６：2018年の承認品目数は再集計の結果109品目であったため、内訳を更新している。

年と比較して２品目増加し、これまでで最も多かった。

審査区分別の内訳では、通常審査品目が92品目、優先審査品目は38品目であった。優先審査品目が全承認品目に占める割合は29%であり、2014年以降は高い水準（30%前後）で推移していた。また、優先審査品目のうち、希少疾病用医薬品が35品目であり、2018年と比較し、３品目増加した。希少疾病用医薬品は2014年以降増加し、20～30品目前後で推移しているが、2019年は35品目とこれまでで最も多かった（図２）。

図２　希少疾病用医薬品承認品目数の年次推移



出所：新医薬品の承認品目一覧（PMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

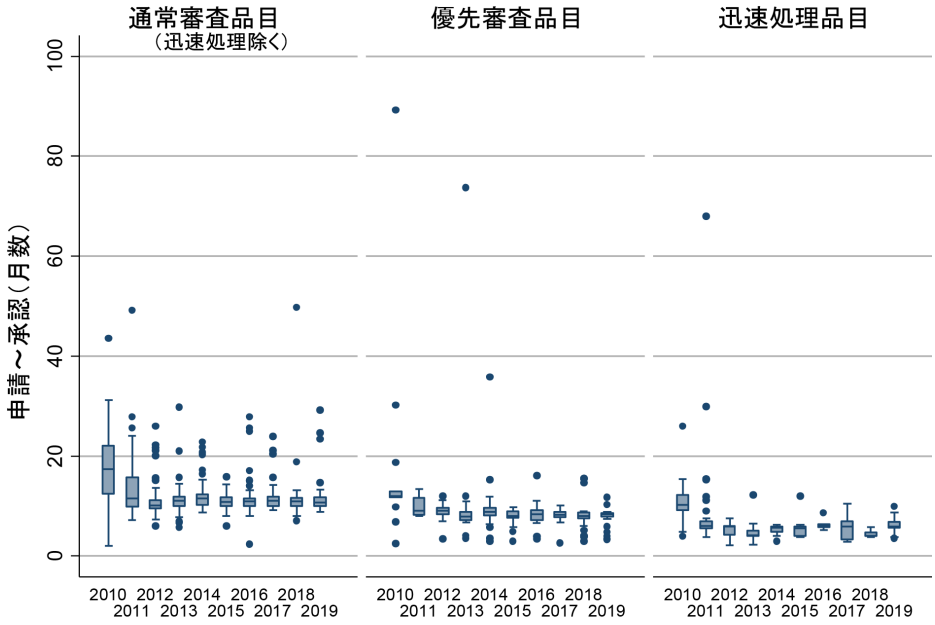
新医薬品の審査期間

2010～2019年に承認された新医薬品の審査期間の年次推移を図３および表２に示した。

2019年に承認された全130品目の審査期間の中央値は9.9ヶ月と、2018年と同様で、審査期間が大幅に短縮した2011年以降10ヶ月前後でばらつき少なく推移していた。審査区分別で見てみると、審査期間の中央値は迅速処理品目を除いた通常審査品目では10.7月、優先審査品目では8.4ヶ月であり、

こちらも2011年以降の審査期間と同様であった。なお、通常審査品目（迅速処理除く）における審査期間の80パーセンタイルは11.8ヶ月であり、目標値とされる12ヶ月以内[4]に承認されていた。また、優先品目における審査期間の80パーセンタイルは8.7ヶ月であり、こちらも目標値とされる９ヶ月以内[4]に承認されていることが確認できた。

図３　審査期間（月数）の年次推移（承認年毎；2010～2019年）



出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれも PMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注）審査期間が100ヶ月を超える以下２品目は、グラフから除外した。
2010年承認の「エポジン皮下注シリンジ24000」（審査期間195.1ヶ月）
2015年承認の「献血ヴェノグロブリン IH５％静注2.5g/50mL」（審査期間208.2ヶ月）

表２　審査期間（月数）の推移

	全体				通常審査品目（迅速処理除く）				優先審査品目				迅速処理品目			
承認年	N	中央値	平均値	SD	N	中央値	平均値	SD	N	中央値	平均値	SD	N	中央値	平均値	SD
2010	104	14.7	18.2	20.0	77	17.5	19.6	21.1	13	12.0	18.7	22.1	12	10.2	11.1	5.6
2011	131	10.1	11.7	7.8	75	11.6	13.6	6.1	15	9.1	9.7	1.8	41	6.1	9.1	10.6
2012	120	9.5	9.5	3.7	72	10.1	11.1	3.5	23	9.1	8.9	1.6	25	5.9	5.3	1.2
2013	124	10.2	9.9	6.8	80	11.0	11.2	2.9	20	8.2	11.2	14.8	24	4.1	4.7	1.8
2014	137	10.0	10.5	3.9	81	11.5	12.0	2.8	43	8.8	9.3	4.6	13	5.6	5.3	0.9
2015	106	9.9	11.4	19.2	67	10.8	13.8	23.8	30	8.0	7.9	1.5	9	5.5	5.8	2.5
2016	125	10.1	10.3	3.4	81	10.9	11.4	3.4	39	8.4	8.4	2.2	5	6.2	6.4	1.3
2017	85	10.0	9.9	3.4	50	11.1	11.7	2.9	24	8.3	8.1	1.5	11	5.8	5.7	2.4
2018	109	9.9	9.7	4.8	62	10.9	11.6	5.1	38	8.0	8.1	2.7	9	4.0	4.4	0.8
2019	130	9.9	9.9	3.3	79	10.7	11.4	3.1	38	8.4	7.9	1.6	13	5.9	6.3	1.7
計	1,171	10.1	11.0	9.7	724	11.0	12.8	10.8	283	8.5	9.1	6.8	162	5.7	6.7	6.0

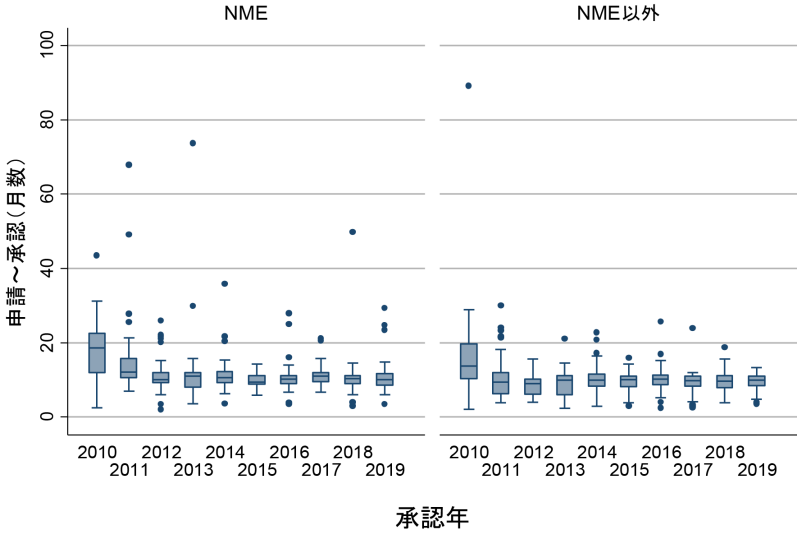
出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれも PMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注）2010年の特例承認２品目（乳濁細胞培養 A 型インフルエンザ HA ワクチン H1N1「ノバルティス」筋注用、アレパンリックス（H1N1）筋注）は通常の審査プロセスと異なるため、優先、通常には分類せず承認品目数にのみ含めた。

4）PMDA ホームページ　第四期中期目標：https://www.pmda.go.jp/files/000228975.pdf

つづいて、NME のみに限定した場合の審査期間の年次推移について、図４および表３に示した。2019年に承認された NME39品目の審査期間の中央値は10.0ヶ月であり、2018年よりも0.3ヶ月短かった。NME 以外の品目は9.9ヶ月となっており、2018年よりも0.2ヶ月長かった。NME の中には一部審査期間がかかってしまう品目があるものの、その審査期間の中央値は NME 以外の品目とほぼ同じであった。

図４　NME の審査期間（月数）の推移（承認年毎；2010～2019年）



出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注）審査期間が100ヶ月を超える以下２品目は、グラフから除外した。
2010年承認の「エポジン皮下注シリンジ24000」（審査期間195.1ヶ月）
2015年承認の「献血ヴェノグロブリン IH５％静注2.5g/50mL」（審査期間208.2ヶ月）

表３　NME と NME 以外の審査期間（月数）の推移（承認年毎；2010～2019年）

	NME				NME 以外			
承認年	N	中央値	平均値	SD	N	中央値	平均値	SD
2010	33	18.5	17.7	9.1	71	13.7	18.4	23.5
2011	38	12.1	15.6	11.5	93	9.4	10.2	4.9
2012	45	10.1	11.0	4.7	75	8.9	8.5	2.5
2013	32	11.0	12.7	11.9	92	9.9	8.9	3.3
2014	60	10.5	11.3	4.4	77	9.9	9.8	3.5
2015	38	9.3	9.8	1.9	68	10.0	12.4	23.9
2016	52	10.2	10.5	3.9	73	10.1	10.1	3.0
2017	24	10.9	11.4	3.7	61	9.8	9.3	3.1
2018	37	10.3	10.7	7.0	72	9.7	9.2	3.0
2019	39	10.0	10.9	4.8	91	9.9	9.4	2.2
計	398	10.7	12.0	7.1	773	9.9	10.5	10.8

出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

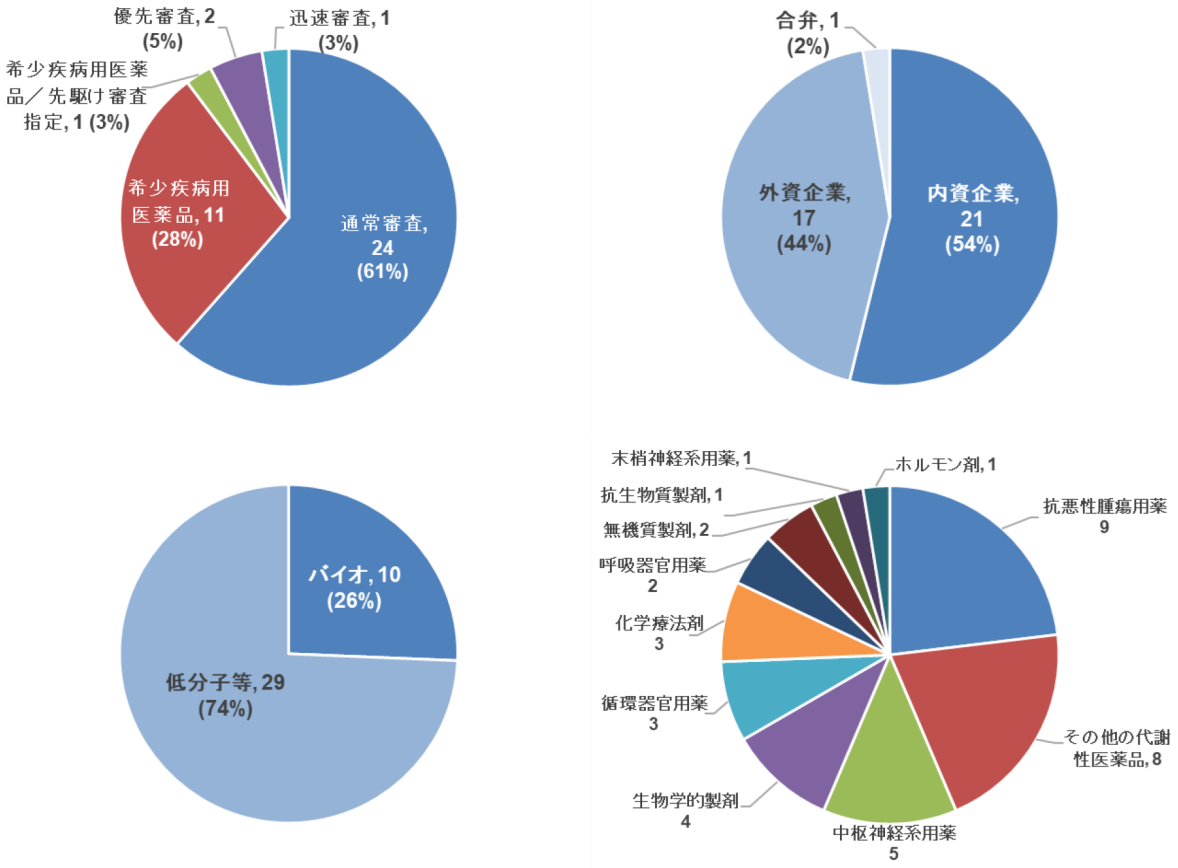
注）2010年の特例承認２品目（乳濁細胞培養 A 型インフルエンザ HA ワクチン H1N1「ノバルティス」筋注用、アレパンリックス（H1N1）筋注）は通常の審査プロセスと異なるため、優先、通常には分類せず承認品目数にのみ含めた。

新有効成分含有医薬品（NME）に関する分析

2019年に承認されたNME（39品目）の内訳に関して調査した。NMEの審査区分では、通常審査品目が24品目（61％）、希少疾病用医薬品（優先審査品目、先駆け審査指定品目含む）が12品目（31％）、希少疾病用医薬品以外の優先審査品目が２品目（５％）である。

NMEの申請企業を内外資企業別に見ると、内資企業のNMEは21品目（54％）、外資企業のNMEは17品目（44％）であり、例年に比べ内資企業の品目割合が多く、また承認数も外資企業より多い結果であった。2019年承認のバイオ医薬品のNMEは10品目であり、全NMEの26％を占めていた。そのうち、抗体医薬品が５品目あり、内資企業品目は２品目（合弁含む）である。薬効分類別では、抗悪性腫瘍用薬が最も多く９品目と約23％を占めていた。また、その他の代謝性医薬品は８品目、中枢神経系用薬５品目、生物学的製剤４品目、循環器官用薬３品目、化学療法剤３品目の順で多く承認されている。

図５　2019年に承認されたNMEの区分別承認数



出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

先駆け審査指定制度の対象品目の承認

先駆け審査指定制度の対象品目として、2019年は２品目承認された（承認順に、ビンダケルカプセル、ロズリートレクカプセル：表４）。それらの品目の審査期間はそれぞれ4.8ヶ月、5.9ヶ月であり、優先審査品目の審査期間の中央値7.7ヶ月と比較して非常に短かった。先駆け審査指定制度の対象品目における特別措置の１つである優先審査については、承認申請から承認までの総審査期間の目標値を６ヶ月と設定されている[4)]が、2019年に承認された２品目はその目標期間の中で承認が行われていることが確認された。

表４　2019年に承認された先駆け審査指定品目の対象品目（全２品目）

	申請会社	製品名	審査分野	効能・効果	指定日	申請日	承認日	審査期間（月）
1	ファイザー株式会社	ビンダケルカプセル20mg	第２	トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）	2018/3/27（第３回）	2018/11/2	2019/3/26	4.8
2	中外製薬株式会社	ロズリートレクカプセル100mg／同カプセル200mg	抗悪	NTRK融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌		2018/12/19	2019/6/18	5.9

出所：医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表（令和元年10月４日現在）、審査報告書（いずれもPMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表５　2018、2019年に承認された新再生医療等製品（全４品目）

	申請会社	製品名	効能・効果	審査区分	承認	申請日	承認日	審査期間（月）
1	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジェイス	栄養障害型表皮水疱症及び接合部型表皮水疱症	希少疾病用	一部変更	2018/3/20	2018/12/28	9.3
2	ニプロ株式会社	ステミラック注	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善	先駆け審査指定	条件及び期限付き承認	2018/6/29	2018/12/28	6.0
3	ノバルティスファーマ株式会社	キムリア点滴静注	再発又は難治性のCD19陽性のＢ細胞性急性リンパ芽球性白血病、再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型Ｂ細胞リンパ腫	希少疾病用	承認	2018/4/23	2019/3/26	11.1
4	アンジェス株式会社	コラテジェン筋注用４mg	標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善	通常	条件及び期限付き承認	2018/1/22	2019/3/26	14.1

出所：承認品目一覧（新再生医療等製品）、審査報告書、添付文書（いずれもPMDA）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

新再生医療等製品の承認とその審査期間

ここからは近年承認された新再生医療等製品の承認品目とその審査期間について紹介する（表５）。

2018年は、自家培養表皮ジェイスの効果・効能追加、および脊髄損傷に対する初の再生医療等製品であるステミラック注が承認された。2019年は、国内で初めてのCAR-T細胞療法であるキムリア点滴静注、および国内で初めての遺伝子治療用製品としてコラテジェン筋注用の２品目が承認された。なお、ステミラック注は７年間、コラテジェン筋注用は５年間の期限付き・条件付きでの承認となっている。それらの審査期間はそれぞれ9.3ヶ月、6.0ヶ月、11.1ヶ月、14.1ヶ月であった。先駆け審査指定制度の対象品目の審査期間の目標値は６ヶ月、また再生医療等製品における審査期間の目標値として優先品目では全品目の50％を９ヶ月以内、通常品目では50％を12ヶ月以内に処理[4]、とされており、いずれも目標値に近い期間で承認されていることが確認できた。

おわりに

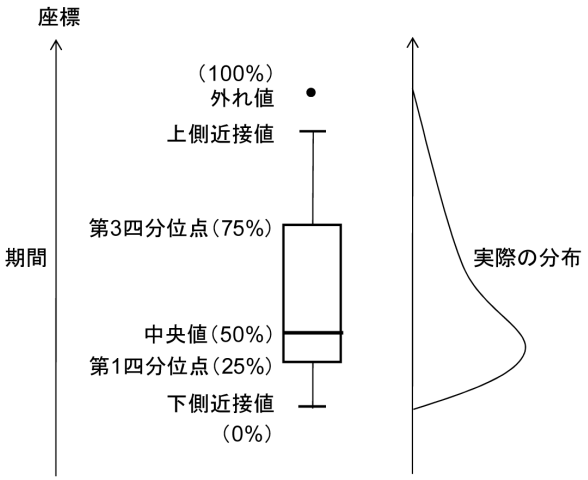
日本で2019年に新医薬品として承認された130品目について審査区分別にその審査期間の調査を行い、審査期間が大幅に短縮された2011年以降と同様の審査期間を維持していたことが確認できた。また、先駆け審査指定制度の対象品目に関しては医薬品および再生医療等製品共に前年と同様の迅速な審査が行われていた。

2019年11月に改正薬機法が成立し、2015年から試行的に運用されている先駆け審査指定制度、および条件付き早期承認制度が法制化された。遺伝子治療薬の登場など治療モダリティが多様化する中、革新的な医薬品や再生医療等製品が世界に先駆けて日本で申請および承認され、いち早く患者のもとに届くことを期待したい。

（補足）

期間が著しく長い品目や特例により短い品目が存在することから、主たる基本統計量は中央値とし、サンプル数（N）、平均値、標準偏差（SD）を併記した。また、図３、図４は、データの分布がわかるよう箱ひげ図で示した。箱ひげ図の箱の中央の線は中央値（50％）、箱の下端、上端の線はそれぞれ第１四分位点（25％）、第３四分位点（75％）を示している。すなわち、100個のサンプルがあった場合、25番目のサンプルの値が第１四分位点、50番目が中央値、75番目が第３四分位点となる。箱の上下の近接値（ひげ）は箱の高さ（第１四分位点～第３四分位点の長さ）の1.5倍以内で中央値から最も離れているサンプルを示している。近接値外にある外れ値は点として示される。

箱ひげ図



希少疾病用医薬品（Orphan drug）の開発動向
－FDA で承認された Orphan drug の日本での開発状況の分析－

医薬産業政策研究所　主任研究員　粟村眞一朗
主任研究員　橋本絵里子
主任研究員　澁口　朋之
統括研究員　村上　直人

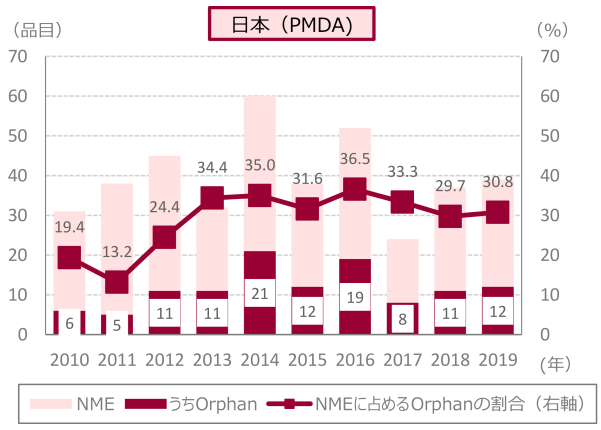
医薬産業政策研究所では、規制当局の公表情報等をもとに、日本、米国および欧州の新医薬品の承認情報や審査期間に関して継続的に収集、分析している[1)]。政策研ニュース第58号[2)]では2018年までの日米欧の新医薬品の承認状況を比較し、近年、米国（FDA）にて Orphan Drug の指定を受けた品目の承認件数が増加し、2018年承認の新有効成分含有医薬品（New Molecular Entity, NME）の57.6％を占めていたことを報告した。一方で、日本では、希少疾病用医薬品（Orphan drug）の指定を受けた医薬品の承認件数が NME に占める割合は３割程度に留まっており、その傾向には違いがみられる。そこで今回、日本でもOrphan Drugの承認割合が米国と同程度の水準まで増加していくのかを予測するため、近年 FDA で承認された Orphan Drug の日本での開発状況を調査した。

日米の Orphan Drug の承認状況の推移

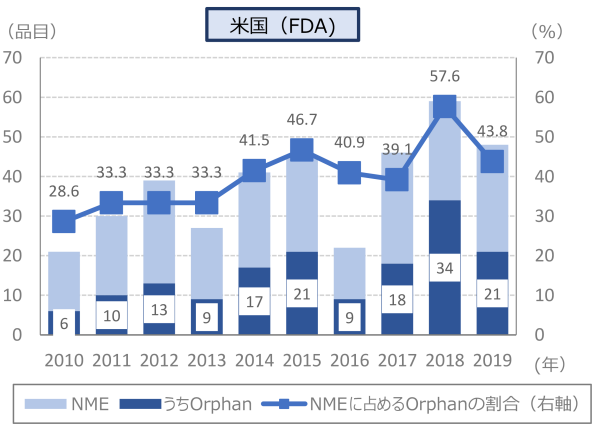
直近10年間（2010年～2019年）の日米のOrphan Drugの指定を受けた品目の承認件数およびNMEに占める割合について示した（図１）。

その結果、日本では過去10年間でNME396品目中 Orphan Drug は116品目（29.3％）であるのに対し、米国では378品目中158品目（41.8％）であ

図１　日米の新有効成分含有医薬品（NME）に占める希少疾病用医薬品（Orphan Drug）の割合の年次推移



出所：PMDA 公開情報より医薬産業政策研究所にて作成



出所：FDA 公開情報より医薬産業政策研究所にて作成

1）医薬産業政策研究所.「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績」リサーチペーパー・シリーズ　No.69（2016年11月）
2）医薬産業政策研究所.「新薬承認状況及び審査期間の日米欧比較－2018年承認実績を中心に－」政策研ニュース　No.57（2018年11月）.

った。Orphan Drugの指定基準の違いはあるものの、米国の方がその割合は高い。また、日本では、近年、その割合は３割程度（29.7～36.5％）で平均的に推移しているのに対し、米国では、2014年以降は39.1％～57.6％と高く、Orphan Drug が占める割合が日本より高いのが特徴である。

まず、日米のOrphan drugの指定基準、優遇措置の内容の違いについて見てみる。

Orphan Drug 指定制度の違い

表１に日米の Orphan Drug の指定基準および優遇措置等をまとめた。

日本では、対象が５万人未満（全人口に占める割合は0.04％）であるのに対し、米国は20万人未満（全人口に占める割合は0.06％）と、対象患者数だけで比較すると、米国の方が広く希少疾病の定義を判断していることがわかる。また、指定の基準の中で、日本では、医療上の必要性（疾患の重篤度）や開発可能性が含まれているのに対し、米国では開発コストを米国で回収できないという項目が含まれている。

一方、優遇措置の内容としては、助成金交付、税制優遇が日米ともに設定されており、医薬品開発に関して優先的に相談が可能という点では両者共通である。審査については、日本では、希少疾病用医薬品の指定とともに優先審査が適用されるのに対し、米国は別途Priority reviewの指定を受ける必要がある点が異なっている。また、承認後の優遇措置として、日本では、再審査期間が最長10年間（新有効成分含有医薬品の再審査期間は８年間）まで延長され、再審査期間中のジェネリック医薬品の参入を防いでいるのに対し、米国では７年間のデータ保護期間が設定され、市場独占権が認められている。

なお、米国では“Rare pediatric disease priority review voucher program”を設置し、主に18歳までに発症し、米国の患者数が20万人未満の疾病に対する医薬品に対し、優先審査バウチャーを発行して、小児科領域の希少疾患治療のための新薬開発を促す制度を開始している。

Orphan Drug の日本での承認・開発状況

直近10年間（2010年～2019年）に FDA で承認された Orphan Drug158品目について、日本での承認および開発状況を、Evaluate Pharma、PharmaProject、明日の新薬のデータベースを用い、調査した（図２）。2019年12月末現在、73品目（46％）[3)] が承認され、29品目（18％）が申請中あるいは臨床試験段階にある一方、48品目（30％）が日本での開発状況が確認されなかった。2018年、2019年はOrphan Drugの品目数は34品目、21品目と多いが、それぞれ12品目、11品目が日本で未開発であり、今後開発が開始される可能性はあるものの、日本で未開発のOrphan drugの割合は高くなっていた。

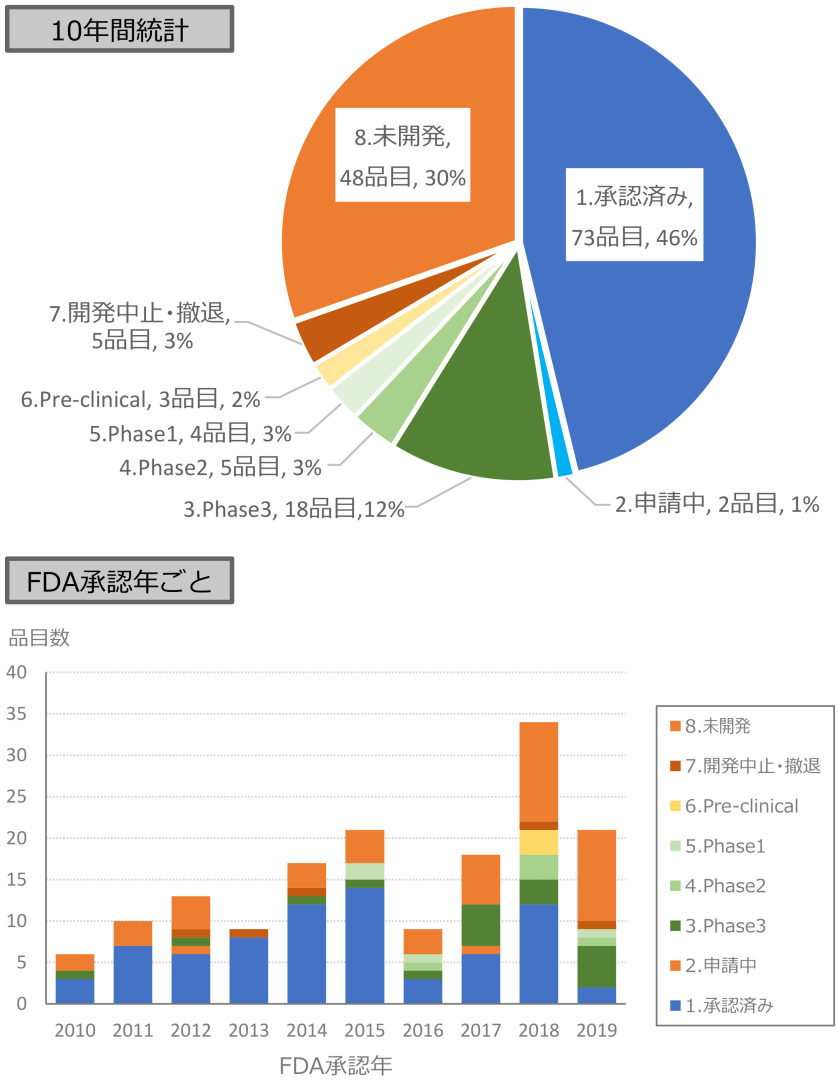
表１　希少疾病用医薬品指定制度（Orphan Drug Designation）の指定基準および優遇措置

	制度の名称	対象	優遇措置の内容
日本	希少疾病用医薬品指定制度	日本で対象患者数が５万人未満であること（あるいは指定難病）、医療上特にその必要性が高い、開発の可能性	助成金交付、優先対面助言、優先審査（総審査期間の目標：９ヶ月）、再審査期間延長（最長10年）、税額控除などの支援措置を受けられる。
米国	Orphan Drug Designation	米国で患者数が原則20万人に満たない疾患に対して開発される新薬、開発コストが米国で回収できるか	医薬品指定を受けると税制優遇、助成金、申請手数料免除、プロトコール相談などの優遇を受けることができる。＊別途Priority Review 指定が必要

出所：厚生労働省、FDA の各ホームページをもとに医薬産業政策研究所にて作成

3）日本で承認済みの73品目中、60品目が日本で希少疾病用医薬品の指定を受けている。

図２　過去10年間に FDA で承認された Orphan Drug の日本での開発状況



出所：Evaluate Pharma、PharmaProjects、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成

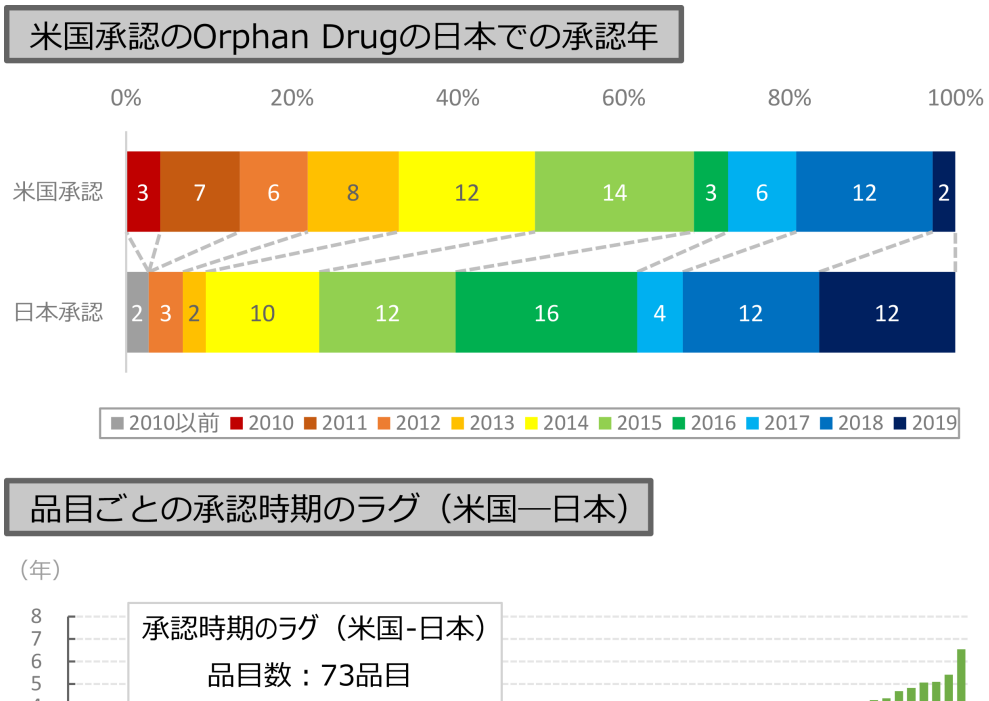
過去10年間に FDA で承認された Orphan Drug の日本の承認時期とそのラグ

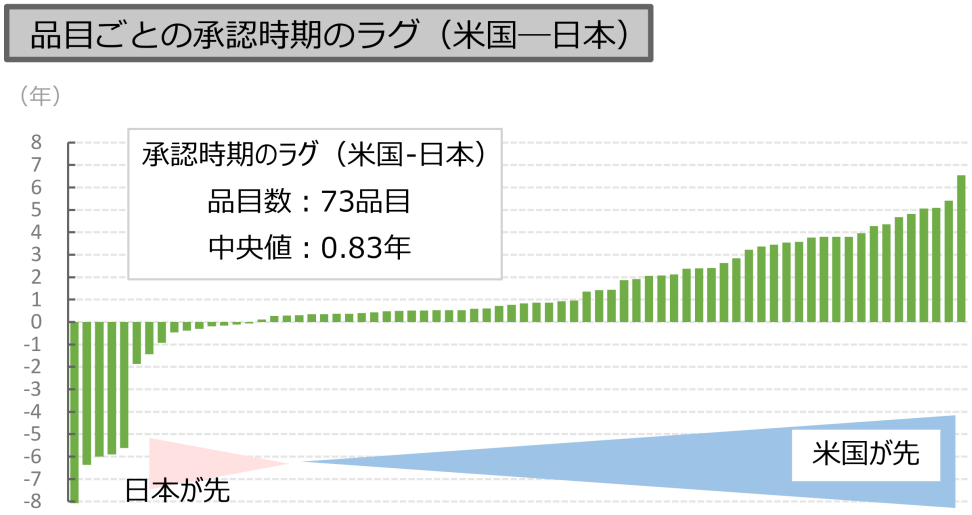
過去10年間（2010年～2019年）に FDA で承認された Orphan Drug158品目のうち、日本でも承認されている72品目について、日米それぞれの承認時期と品目ごとのラグを示した（図３）。72品目中、日本の方が先に承認されたのは15品目（21%）[4]で、残り58品目（79%）は米国が先に承認されていた。米国と日本の承認時期の差（中央値）は、0.83年[5]であり、日本が米国より３年以上遅れている品目も19品目認められた。Orphan Drugの承認時期のラグを考慮すると、現在、日本で開発段階にある品目については、数年の間に、日本での承認申請等が行われることが予想された。

4）米国に対し日本が先行して承認された15品目のうち、14品目は日本も希少疾病用医薬品の指定を受けていたが、日本に患者数が多いといった特定の傾向は認めず、３年以上日本が先行している品目は、日本の企業が日本で先行して開発、特別な理由があり米国のみ遅れた品目（日欧が先行）等であった。

5）承認時期の差（中央値）を、日本での希少疾病用医薬品の指定の有無で分類すると、指定有（60品目）で0.74年、指定無（13品目）で0.95年であった。

図３　日米で承認された Orphan Drug の承認年および品目ごとのラグ





出所：Evaluate Pharma、PharmaProjects、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成

日本未開発の Orphan Drug の内訳

直近10年間（2010年～2019年）に FDA で承認された Orphan Drug158品目のうち、日本の開発情報が確認されなかった48品目について、FDAが公開している効果効能をもとに、どのような疾患が多いのか調査した（表２）。その結果、日本で未開発の48品目のうち、遺伝性疾患が15品目（欧米と比較し日本人の患者が著しく少なく治験が実施できない等）、感染症・熱帯病11品目（マラリア等、日本ではほとんど発生しない感染症）の順に多かった。

日本未開発の医薬品の中には、日本で発生例がない、患者数が著しく少ない等で開発が困難な疾患も含まれており、これらの品目のすべてを米国と同様に開発することは困難であると考えられた。したがって、近年の FDA での承認数の増加が必ずしも日本でのOrphan drugの承認数の増加につながるわけではないと考えられた。

表２　日本未開発の Orphan drug（46品目）の分類

種類	適応となる疾患	品目数	備考
1. 遺伝性疾患	嚢胞性線維症、ゴーシェ病、ハンチントン病、遺伝性オロト酸尿症　等	16	日本人の患者数が著しく少なく治験が実施できない等
2. 感染症･熱帯病	炭疽、マラリア、鎌状赤血球症、リーシュマニア症、シャーガス病、肝蛭症等	12	日本で発生例が著しく少ない。
3. 希少がん	各種白血病、リンパ腫等	7	
4. 診断薬	各種診断薬	3	
9. その他	ナルコレプシー、レノックス・ガストー症候群、腎臓移植後の拒絶反応予防　等	10	

出所：FDA 公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

まとめ

従来、難病、エイズ等を対象とする医薬品は、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等により、十分にその研究開発が進んでいなかったが、米国では1983年に、日本ではその10年後の1993年にOrphan drugの開発促進のための制度が法制化され、その後、製薬企業、規制当局が協力して、これらの医薬品の開発に取り組んできている。また、日本では、2010年より医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議を開催し、希少疾病を含め、医療上の必要性の高い未承認薬に対する開発促進（公知承認）の取り組みも実施し、これらの医薬品のドラッグラグ解消が進んできた。

今回、近年、日本と比べ米国での Orphan drug の承認件数が多いことに注目し、米国で近年承認されたOrphan drugの内訳、日本での開発状況を調査した。その結果、過去10年間に米国で承認された Orphan drug の約2/3が承認済みあるいは開発段階にあることがわかった。また、日本で未開発（開発情報が確認されない）の品目の中には日本での発生例がない、患者数が著しく少なく開発が困難な疾病も一部含まれていた。指定基準の違いもあり、今回の結果だけで結論を主張することは難しいが、日本で未開発のOrphan Drugの種類から考えると、日本では必ずしも米国と同じように Orphan Drug が開発されるわけではないと考えられる。

一方で、これまで長年にわたり創薬を生み出すための貢献をしてきた成果もあり生活習慣病を中心に多くの疾患の治療満足度が飛躍的に増加してきた。それに加え、遺伝子技術をはじめとした技術革新が進み、高度かつ有用性の高い個別化医療も実現してきている。これらのことを鑑みると、アンメットメディカルニーズの高い希少難病に対する革新的な医薬品の創出が可能となり、それらの医薬品の開発が進むことは、米国だけでなく、日本を含む全世界の大きな流れとなっていくと予想される。

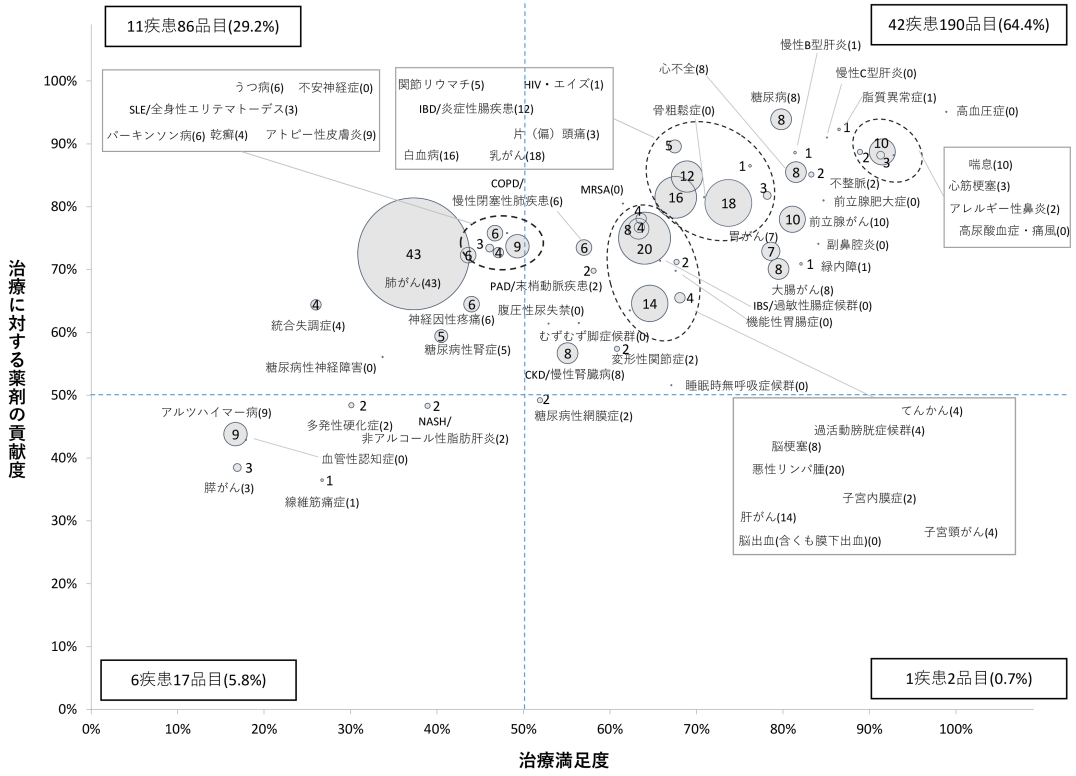
希少であるが故に、市場規模や臨床試験の実施可能性の問題は存在しているが、希少難病で苦しむ患者さんが、これらの疾病を改善する医薬品の創出を待ち望んでいるのも事実である。我々製薬企業としては､常に患者さんのことを第一に考え、これらの疾病を含み、世界の人々の健康に貢献する革新的な医薬品を創出する努力をしていくことが使命であろう。

アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況
－2019年の動向－

医薬産業政策研究所　主任研究員　橋本絵里子

医薬産業政策研究所では、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（以下、HS財団）による医療ニーズに関する調査結果[1]をもとに、新薬の承認及び開発パイプラインに関するデータを集計し、アンメット・メディカル・ニーズに対する製薬企業の取組み状況を継続的に分析している[2－6]。

図１　治療満足度・薬剤貢献度（2014年度）別にみた開発件数（2020年１月時点）



注：数字（括弧内含む）は該当新薬の開発件数を示す。
出所：HS財団による調査結果、各社公表情報、製薬協ホームページ、明日の新薬をもとに作成。

1）公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成26年度（2014年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」
2）医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュースNo.34（2011年11月）
3）医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認・開発状況」政策研ニュースNo.38（2013年３月）
4）医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュースNo.41（2014年３月）
5）医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュースNo.45（2015年７月）
6）医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュースNo.52（2017年11月）

調査対象の60疾患は調査班で議論して重要と考える疾患であり、具体的には重篤な疾患、QOLを著しく損なう疾患、患者数の多い疾患、社会的に影響の大きい疾患等である。本稿では直近の治療満足度調査結果（2014年度）に基づいて、これら60疾患に対する2020年１月時点の開発パイプライン数及び2011年～2019年の薬剤承認数を示すとともに、60疾患に含まれる10のがん種に対する薬剤の承認件数の増加数と５年生存率の改善度との関係を分析する。

治療満足度別にみた新薬の開発状況

図１は2014年度 HS 財団調査における治療満足度（横軸）、薬剤貢献度（縦軸）に沿って疾患をプロットし、今回調査した開発件数を円の大きさおよび数値で示したものである[7)]。前回調査と同様の製薬会社20社[8)]の2020年１月時点における国内開発品目（フェーズ１～申請中）を集計対象とした[9)]。該当の開発件数は291件[10)]で、件数の多い順に肺がん（43件）、悪性リンパ腫（20件）、乳がん（18件）、白血病（16件）、肝がん（14件）であり、60疾患中上位５疾患ががんであり、がんにおける開発が盛んな状況である。なお、60疾患には全部で10のがん種が含まれているが、これら５つのがん種以外も見てみると、開発件数は前立腺がん（10件）、大腸がん（８件）、胃がん（７件）、子宮頸がん（４件）、膵がん（３件）であった。がんの中で治療満足度、薬剤貢献度ともに最も低い膵がんの開発件数ががんの中では最も少なく、開発の難しさが示唆される。

今回集計した開発件数291件のうち、164件が新規有効成分の開発であり、その割合は56.4%（2017年調査時71.9%）であった。がんとそれ以外の疾患に分けてみるとがんでは新規有効成分の開発割合が46.9%、それ以外の疾患では65.7%であり、がん治療薬剤が発売後に異なるがん種や同じがん種の中でも異なる患者グループに対して効能を追加していく傾向が高いことが開発状況に反映されていた。

参考として、過去の調査から今回の調査までの疾患別開発件数の推移を表１に示す。

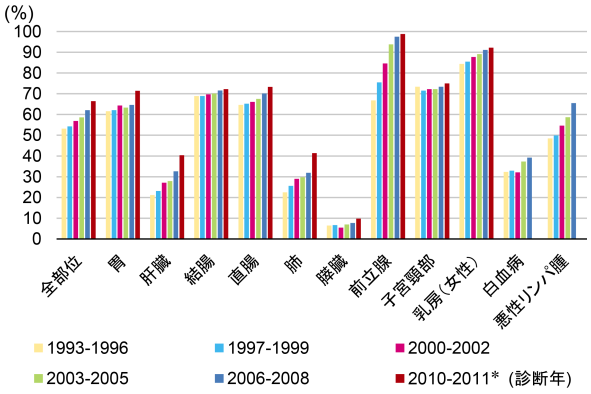
60疾患別にみた薬剤承認件数

2011年～2019年に新薬として承認、あるいは効能追加された薬剤のうち、2014年度 HS 財団調査対象の60疾患に分類できるものの件数をまとめた（表２）[11)]。2011年～2019年に新規承認、効能追加された薬剤について、がんについてみてみると、件数が多い順に悪性リンパ腫（27件）、肺がん（22件）、白血病（20件）などがならび、開発件数上位のがん種が承認件数においても多く確認できた。

このうち、開発数、承認数ともに件数が多かった肺がんについて薬剤の動向を見てみると、近年 EGFR 遺伝子変異、ALK 融合遺伝子、ROS1融合遺伝子、BRAF 遺伝子変異といったがんの増殖に関わる遺伝子のタイプに応じた薬剤や免疫チェックポイント阻害剤が次々と開発・承認され、さらに、他剤に耐性となったタイプへの薬剤、PARP 阻害薬、抗 HER2抗体といった異なるターゲットに作用する薬剤も開発が進められている。一口に肺がんといってもその遺伝子タイプなどによって最適なアプローチは異なる。細分化された各タイプに対応する治療薬の選択肢は益々増える方向にあり、より治療が個別化していくことが予想される状況であった。

7）各疾患の該当にあたっては、当該疾患ならびに当該疾患に起因する疾患、また当該疾患の予防につながるものも含めている。
8）対象企業はアステラス製薬、アストラゼネカ、エーザイ、大塚製薬、小野薬品工業、グラクソ・スミスクライン、協和キリン、サノフィ、塩野義製薬、第一三共、大日本住友製薬、武田薬品工業、田辺三菱製薬、中外製薬、日本イーライリリー、日本ベーリンガー・インゲルハイム、ノバルティスファーマ、バイエル薬品、ファイザー、MSD である。
9）データソースは各社ホームページ・決算資料、日本製薬工業協会ホームページ、明日の新薬（㈱テクノミック）を用いた。
10）60疾患に該当する複数の効能を対象にした試験があり、疾患数でカウントすると295件となる。
11）厚生労働省薬事・食品衛生審議会部会審議品目又は報告品目における新有効成分含有医薬品（NME）・新効能医薬品を集計対象とした。

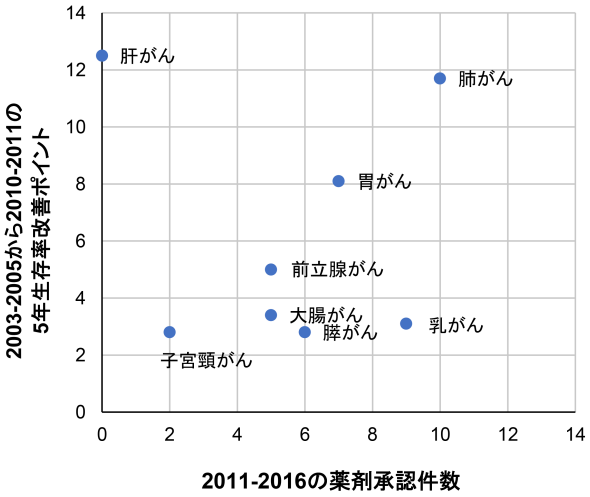
図２　がん部位別５年生存率（相対生存率）の推移



（大腸がんは結腸、直腸に分けて集計）

出所：国立がん研究センター　がん情報サービス 地域がん登録によるがん生存率データ、＊2010-2011データのみ 国立がん研究センター　がん診療連携拠点病院等院内がん登録 2010-2011年５年生存率集計 報告書

図３　がん部位別５年生存率の改善ポイントと承認薬剤件数の関係



がんの５年生存率の改善と承認薬剤数

新たながん治療薬の承認、既存薬の効能追加をはじめとするがん治療の進歩に伴い、がん患者さんの予後はどの程度改善されているのかについて、見てみたい。国立がん研究センターの分析データ[12]によれば、がんの部位別５年生存率はこれら10のいずれの部位のがんにおいても改善傾向が見られた。（図２）現時点で最新のデータである2010年～2011年に診断された患者さんの５年生存率は全部位のがんの集計で66.4％であり、2006年～2008年に診断された患者さんにくらべて4.3ポイントの改善が見られた。10疾患で見ると2010年～2011年に診断された患者さんの５年生存率が最も高かったのは前立腺がんで98.8％、最も低いのは膵がんで9.8％であった。2006年～2008年診断患者と比べて最も改善ポイント数が高かったのは肺がん（9.5ポイント改善）で、低かったのは結腸がん（大腸の一部）の0.6ポイント改善であった。

５年生存率の改善については早期診断・早期治療の普及や手術等の技術改善などが大きく影響しているため、薬剤がどの程度貢献しているか、ということは難しいが、これらがん種ごとの５年生存率の改善と承認薬剤の数との関係について分析を行ってみた。縦軸に2003年～2005年診断患者（2011年以降に承認された薬剤が５年生存率に影響していないグループ）と2010年～2011年診断患者（2011年～2016年の承認薬剤が５年生存率に影響している可能性のあるグループ）の５年生存率の改善ポイントをがん種ごとに調べ、横軸に2011年～2016年のがん種ごとの薬剤承認件数をとって各がん種をプロットした。（図３）なお、白血病と悪性リンパ腫は2010年～2011年診断患者の５年生存率データが入手できなかったため、分析には加えていない。

薬剤が多く承認された肺がん、胃がんなどでは５年生存率の改善ポイントも大きかった。乳がんについては改善ポイントがそれほど高くないが、もともとの５年生存率が89.1％と高い値であったことがその背景として考えられる。しかし同様に元の５年生存率が93.8％と高かった前立腺がんでは98.8％とさらに大きく生存率を伸ばしていた。肝がんについてはこの期間、新たな承認薬剤がなかったが、５年生存率改善ポイントは大きかった。肝がんの主な要因はＢ型・Ｃ型肝炎ウイルスの持続感染であるが、Ｂ型・Ｃ型肝炎を対象疾患とした薬剤の承認件数は2011年～2016年に合計20件あった。日本肝臓学会 肝癌診療ガイドライン2017年

12）国立がん研究センター　がん情報サービス 地域がん登録によるがん生存率データ、がん診療連携拠点病院等院内がん登録 2010-2011年５年生存率集計 報告書

版によれば、「ウイルス肝炎に起因する肝細胞癌において、肝切除後や穿刺局所療法後の抗ウイルス療法は、再発抑制や生存率の向上に寄与する可能性がある。」とされており、ウイルス肝炎の治療薬が肝がんの生存率改善に間接的に貢献している可能性が示唆される。

おわりに

アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の2019年の開発・承認状況を調査した。

今までの調査同様、各疾患領域での活発な開発・承認状況が確認できたが、今回は開発件数上位５疾患がすべてがんであったことから、がんにフォーカスした検討も行った。調査対象であった10のがん種について、承認薬剤数と開発件数は似た傾向があり、血液がんや肺がんで共に多く、膵がんや子宮頸がんで低かった。これら10のがん種の５年生存率は全て上昇傾向にあり、医薬品の開発、上市がその一翼を担っていることが確認できた。一方膵がんのように治療満足度、５年生存率、開発件数ともに低い疾患もあり、さらなる医薬品の開発、診断・治療の改善が期待される。

表１　治療満足度・薬剤貢献度（2014年度）別に見た各疾患での開発件数推移（2020年１月時点）

疾患分類	疾患名	治療満足度（2014年度）	薬剤貢献度（2014年度）	開発件数				
				2013年１月	2014年１月	2015年５月	2017年６月	2020年１月
感染症	慢性Ｂ型肝炎	81.4%	88.6%	2	1	0	0	1
感染症	慢性Ｃ型肝炎	85.1%	91.0%	5	7	3	0	0
感染症	HIV・エイズ	76.2%	86.5%	1	1	0	1	1
感染症	MRSA	61.5%	80.5%	2	2	1	1	0
新生物	胃がん	78.6%	72.9%	12	10	12	12	7
新生物	大腸がん	79.5%	70.1%	7	9	7	7	8
新生物	肝がん	64.6%	64.6%	13	16	14	19	14
新生物	膵がん	16.9%	38.5%	3	5	2	1	3
新生物	肺がん	37.3%	72.5%	19	24	24	36	43
新生物	乳がん	73.7%	80.6%	22	19	12	18	18
新生物	子宮頸がん	68.1%	65.5%	2	2	2	3	4
新生物	前立腺がん	81.1%	78.0%	9	8	2	12	10
新生物	白血病	67.6%	81.5%	8	13	12	15	16
新生物	悪性リンパ腫	64.0%	75.0%	12	15	16	18	20
代謝疾患	糖尿病	79.8%	93.9%	30	18	12	12	8
代謝疾患	糖尿病性神経障害	33.7%	56.1%	1	1	1	1	0
代謝疾患	糖尿病性網膜症	51.9%	49.2%	3	3	0	0	2
代謝疾患	糖尿病性腎症	40.5%	59.4%	2	5	7	7	5
代謝疾患	脂質異常症	86.5%	92.3%	4	7	8	2	1
精神疾患	アルツハイマー病	16.7%	43.8%	9	10	9	17	9
精神疾患	血管性認知症	17.9%	42.9%	0	0	0	0	0
精神疾患	統合失調症	26.0%	64.4%	5	8	5	6	4
精神疾患	うつ病	46.7%	75.8%	10	12	9	6	6
精神疾患	不安神経症	48.1%	75.8%	2	2	1	0	0
精神疾患	むずむず脚症候群	56.4%	61.5%	1	0	0	0	0
神経疾患	パーキンソン病	43.6%	72.3%	3	3	4	4	6
神経疾患	多発性硬化症	30.1%	48.4%	3	3	3	1	2
神経疾患	てんかん	63.6%	78.1%	9	10	6	5	4
神経疾患	片（偏）頭痛	78.2%	81.8%	0	0	0	1	3
神経疾患	神経因性疼痛	44.0%	64.5%	3	3	5	6	6
神経疾患	線維筋痛症	26.7%	36.5%	1	1	1	1	1
眼疾患	緑内障	82.1%	70.9%	0	1	2	2	1
循環器疾患	高血圧症	98.9%	95.1%	−	−	3	1	0
循環器疾患	心筋梗塞	91.3%	88.2%	9	9	7	3	3
循環器疾患	心不全	81.5%	85.5%	4	4	7	10	8
循環器疾患	不整脈	83.3%	85.1%	4	2	1	3	2
循環器疾患	脳出血（含くも膜下出血）	62.3%	63.5%	0	0	1	0	0
循環器疾患	脳梗塞	63.3%	76.5%	5	3	8	6	8
循環器疾患	PAD/末梢動脈疾患	58.1%	69.8%	2	3	2	1	2
呼吸器疾患	副鼻腔炎	84.1%	74.1%	0	1	1	2	0
呼吸器疾患	アレルギー性鼻炎	88.9%	88.7%	5	8	5	3	2
呼吸器疾患	喘息	91.5%	88.7%	11	14	12	12	10
呼吸器疾患	COPD/慢性閉塞性肺疾患	57.0%	73.5%	6	5	7	10	6
呼吸器疾患	睡眠時無呼吸症候群	67.1%	51.6%	0	0	0	0	0
消化器疾患	機能性胃腸症	67.6%	69.8%	2	1	0	0	0
消化器疾患	IBD/炎症性腸疾患	68.9%	84.8%	13	13	9	16	12
消化器疾患	IBS/過敏性腸症候群	65.8%	71.4%	6	4	3	1	0
消化器疾患	NASH/非アルコール性脂肪肝炎	38.9%	48.3%	1	1	1	2	2
皮膚疾患	アトピー性皮膚炎	49.3%	73.7%	2	5	4	9	9
皮膚疾患	乾癬	47.1%	72.7%	7	7	6	5	4
筋骨格疾患	関節リウマチ	67.5%	89.6%	15	10	10	15	5
筋骨格疾患	高尿酸血症・痛風	92.8%	88.2%	1	1	2	0	0
筋骨格疾患	変形性関節症	60.8%	57.4%	1	1	2	1	2
筋骨格疾患	SLE/全身性エリテマトーデス	46.1%	73.4%	6	8	5	6	3
筋骨格疾患	骨粗鬆症	70.9%	81.5%	5	4	6	1	0
尿路性器疾患	CKD/慢性腎臓病	55.1%	56.7%	11	10	7	7	8
尿路性器疾患	過活動膀胱症候群	63.4%	76.7%	4	2	0	3	4
尿路性器疾患	腹圧性尿失禁	52.9%	61.4%	0	0	0	0	0
尿路性器疾患	前立腺肥大症	84.7%	81.0%	4	2	1	1	0
尿路性器疾患	子宮内膜症	67.7%	71.2%	3	3	5	2	2
	合計			330	340	295	334	295

注：60疾患に該当する複数の効能を対象にした試験があるが、疾患別にそれぞれカウントしている。
出所：「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.52（2017年11月）、各社ホームページ・決算資料、日本製薬工業協会ホームページ、明日の新薬（㈱テクノミック）

表２　60疾患別にみた薬剤承認件数

疾患名	承認件数（新有効成分含有医薬品、新効能医薬品）									総計
	2011年	2012年	2013年	2014年	2015年	2016年	2017年	2018年	2019年	
慢性Ｂ型肝炎	1	0	0	1	0	1	0	0	0	3
慢性Ｃ型肝炎	3	0	1	3	5	5	4	1	2	24
HIV・エイズ	0	1	1	1	0	2	0	2	1	8
MRSA	1	0	0	0	0	0	0	1	0	2
胃がん	2	0	1	0	4	0	1	0	1	9
大腸がん	0	0	1	1	1	2	1	0	1	7
肝がん	0	0	0	0	0	0	1	1	1	3
膵がん	2	1	1	2	0	0	0	0	0	6
肺がん	1	1	1	2	1	4	2	6	4	22
乳がん	5	0	2	2	0	0	2	3	0	14
子宮頸がん	0	0	0	0	1	1	0	0	0	2
前立腺がん	0	1	0	3	0	1	0	1	1	7
白血病	1	2	2	3	0	4	1	4	3	20
悪性リンパ腫	1	2	1	4	3	6	5	4	1	27
糖尿病	7	3	7	10	4	1	0	2	1	35
糖尿病性神経障害	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1
糖尿病性網膜症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
糖尿病性腎症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
脂質異常症	0	1	0	0	0	3	1	1	1	7
アルツハイマー病	3	0	0	0	0	1	1	0	0	5
血管性認知症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
統合失調症	0	0	1	0	0	1	0	1	0	3
うつ病	2	2	1	0	1	0	1	0	1	8
不安神経症	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
むずむず脚症候群	0	2	0	0	0	0	0	0	0	2
パーキンソン病	0	2	2	0	1	0	0	1	1	7
多発性硬化症	1	0	1	1	1	1	0	0	0	5
てんかん	1	1	1	2	2	5	1	0	0	13
片（偏）頭痛	2	0	1	0	0	0	0	0	0	3
神経因性疼痛	2	0	3	1	0	1	0	0	1	8
線維筋痛症	0	1	0	0	1	0	0	0	0	2
緑内障	0	1	0	1	0	0	0	1	0	3
高血圧症	0	1	1	0	0	0	0	0	1	3
心筋梗塞	0	1	0	1	0	1	0	0	0	3
心不全	1	0	0	0	0	1	0	0	1	3
不整脈	1	0	3	0	1	0	0	0	2	7
脳出血（含くも膜下出血）	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
脳梗塞	1	2	0	1	0	0	0	0	0	4
PAD/末梢動脈疾患	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
副鼻腔炎	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
アレルギー性鼻炎	0	0	0	1	2	2	2	0	1	8
喘息	0	0	1	2	1	2	0	1	1	8
COPD/慢性閉塞性肺疾患	1	3	0	1	2	1	0	0	2	10
睡眠時無呼吸症候群	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1
機能性胃腸症	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1
IBD/炎症性腸疾患	0	0	1	0	0	0	2	2	1	6
IBS/過敏性腸症候群	0	0	0	0	1	1	0	0	0	2
NASH/非アルコール性脂肪肝炎	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
アトピー性皮膚炎	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1
乾癬	1	0	0	1	1	3	0	2	3	11
関節リウマチ	2	3	1	0	1	0	3	2	1	13
高尿酸血症・痛風	1	0	1	0	0	0	0	0	0	2
変形性関節症	1	0	0	0	1	1	0	0	0	3
SLE/全身性エリテマトーデス	1	0	0	1	1	0	1	0	0	4
骨粗鬆症	1	0	2	0	0	1	0	0	1	5
CKD/慢性腎臓病	3	1	1	2	1	1	0	0	1	10
過活動膀胱症候群	1	1	1	0	0	0	0	1	0	4
腹圧性尿失禁	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
前立腺肥大症	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1
子宮内膜症	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1
総計	51	34	41	48	39	54	29	38	35	369

注：60疾患のうち、異なる２疾患に同一薬剤が承認された場合は別々にカウントしている。
出所：審査報告書、明日の新薬（㈱テクノミック）、New Current（㈱シーマ・サイエンスジャーナル）、各薬剤添付文書をもとに集計

新薬の小児適応に関する日米比較

医薬産業政策研究所　統括研究員　村上　直人
医薬産業政策研究所　主任研究員　粟村眞一朗
医薬産業政策研究所　主任研究員　橋本絵里子
医薬産業政策研究所　主任研究員　澁口　朋之

はじめに

医薬品の特性として、期待される効能発揮のベネフィットと健康上好ましくない作用（有害事象）発現リスクが共存しており、患者にとってベネフィットとリスクのバランスを最適化することが重要となる。近年、複数の病気に罹患する高齢者において、それぞれを治療するために投与された複数の薬剤同士で薬物相互作用が起こり、有害事象が発生するといった事例報告が増えており、ポリファーマシーと呼ばれているが、このような事例を回避するために高齢者における医薬品の適正使用の一層の促進が、とりわけ重要視されている。

一方、高齢者とは対極にある小児においても、予てより、医薬品の適正使用の観点から医薬品の適応外使用が大きな課題として取り上げられている。これは、ポリファーマシーの例とは背景が異なり、成人に処方可能な既承認医薬品の中で、小児に対する適応がない、あるいはその添付文書に小児における用法・用量の記載がないにもかかわらず小児に対して使用されているものがあるという事実に起因している。心身共に成長過程にある小児では、医薬品に対する反応が成人とは異なるケースが少なからずあり、医学、薬学的なエビデンスに基づいたリスクとベネフィットのバランスの最適化がより厳密に求められる。即ち、ICH（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use；医薬品規制調和国際会議）ガイドラインE11（小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス）およびE11（R1）（同補遺）において推奨されているように[1)]、成人用途の適応取得を目的とする新薬開発中または既承認医薬品について、小児の適応取得、用量設定等のための適切な臨床試験の実施を含む、最適な方法による小児における使用経験の情報の集積が望まれている。

小児における適応外使用に対する取り組み

小児における医薬品の適応外使用は、日本だけの課題ではなく、欧米においても1960年代頃から問題視されてきた。特に米国では問題解決のための施策がいち早く整備され、現在欧米では、行政機関が企業に対して小児を対象とする医薬品開発の要請権を持つと共に、企業に対して小児用医薬品の開発実施に対するインセンティブの付与[2)]を規定している。その結果、小児に対し適応追加された医薬品数の増加とそれに伴う適応外使用の減少や、小児を対象とする臨床試験の増加を示唆する報告がある[3)]。

1）厚生労働省ホームページ ICH－E11 臨床試験、https://www.pmda.go.jp/int-activities/int-harmony/ich/0017.html（2020/01/20参照）
2）一例として、米国では小児対象臨床試験の実施報告書を提出することなどを条件として独占販売期間が、欧州では、新薬の場合、小児対象臨床試験の実施計画書を提出することなどを条件として特許期間が、180日間延長される。
3）中川雅生ほか「本邦における小児医薬品開発推進のための提言」、日本小児科学会雑誌120巻10号1453～1461（2016年）

本邦においても、医師、日本小児科学会を始めとするアカデミア、規制当局、業界団体といったステークホルダーによる取り組みにより、小児における適応外使用の是正に向けた施策が整備され始め、是正の促進が図られつつある。その結果、医薬品の全承認件数における小児の使用に係る承認件数の比率が、2010年以降年々増加傾向にあると報告されている[3)]。

しかしながら、欧州医薬品庁（EMA）によると、2007年から2015年の間に日米欧で承認された小児に対する適応を有する医薬品と既承認医薬品における小児に対する追加効能数の合計は、それぞれ50、249、221と報告されており[4)]、本邦における小児を対象とした適応取得に対する取り組みが、米欧と比較して低調であることが窺われた（欧州の値は、中央審査方式、非中央審査方式、相互承認方式および国別審査方式のいずれかで承認を受けたものの合計である）。その背景として、特定の地域特有の適応疾患である可能性や日本では臨床試験の実施に足るだけの患者数が確認できない可能性また、臨床開発着手の遅延などが想定される。今回、臨床開発着手状況に注目し、小児に対する適応取得と臨床開発実施の有無を単一国地域である米国との間で比較し、本邦における小児適応取得に対する臨床開発面からの取り組み状況を調査した。

調査方法

FDA（米国 食品医薬品局）のホームページ上で入手可能なOrange Book（オレンジブック；医療用医薬品品質情報集）[5)]電子版データファイル（2019年５月版）に掲載された、米国で承認済み医療用医薬品（バイオ医薬品は非掲載）のうち、小児用途の臨床試験実施に基づき独占販売期間が延長（Pediatric Exclusivity）された製品を対象とした。

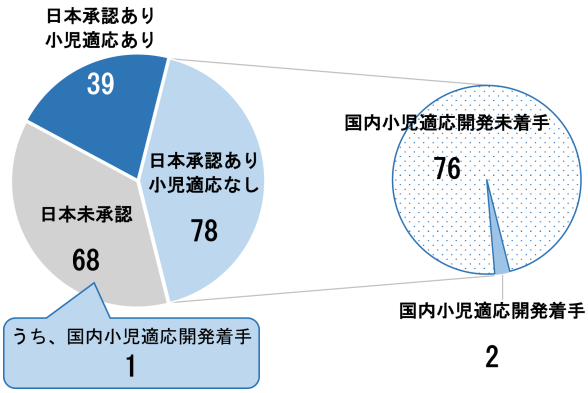
これらの製品について、日本で承認されているか否か、小児適応を有するか否かについて、PMDA（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）のホームページ上で利用可能な検索ツール、医療用医薬品の添付文書情報などにより調査した。また、日本国内における臨床開発の実施状況についての調査は、臨床試験に関するウェブ情報検索ツール、ClinicalTrials.gov（提供 National Library of Medicine；米国 国立医学図書館）あるいは臨床試験情報（Japic Clinical Trials Information、提供 一般財団法人日本医薬情報センター）を用いて実施した。

米国既承認医療用医薬品の日本国内小児適応取得または臨床試験実施の状況

図１に示すように、2019年５月版Orange Bookに収載されている米国の既承認医療用医薬品（低分子医薬品）のうち、Pediatric Exclusivity が適用されたものは185製品であった。

これら185製品のうち、日本で承認されていたも

図１　米国承認医薬品の日本国内小児適応取得状況



出所：Orange Book（FDA）、医療用医薬品の添付文書情報（PMDA）、ClinicalTrials.gov、臨床試験情報（JAPIC）等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

4）EMA　10-year Report to the European Commission, General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation, 27 October 2016　https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/paediatrics/2016_pc_report_2017/ema_10_year_report_for_consultation.pdf（2020/01/20 参照）

5）FDA　Approved Drug Products with Therapeutic Equivalence Evaluations（Orange Book）　https://www.fda.gov/drugs/drug-approvals-and-databases/approved-drug-products-therapeutic-equivalence-evaluations-orange-book（2020/01/20 参照）

のは約６割に当たる117製品で、残りの68製品は日本において未承認の医薬品であった。また、117製品中、小児適応を有するものは３分の１に当たる39製品で、全体の約２割であった。

国内未承認の68製品と小児適応のない国内既承認医薬品78製品について、日本における小児対象の臨床試験実施状況を調査したところ、未承認薬68製品中１製品、既承認薬（小児適応なし）78製品中２製品においてのみ着手していることが確認できた（図１）。即ち、小児を対象とする臨床試験を実施した米国既承認医薬品のうち、日本国内で小児の適応を取得した、あるいは臨床試験を着手している医薬品は、185製品中の約23％に当たる42製品にとどまっていた。

おわりに

日本においても医薬品の適正使用促進の観点より、小児の適応外使用を是正する取り組みとして、既承認薬の小児を対象とする臨床試験を実施する際の再審査期間の延長、小児に対する効能効果や用法、用量が含まれる場合の薬価加算、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議の設置、AMED臨床研究治験推進研究事業「小児領域における新薬開発促進のための医薬品選定等に関する研究」に基づく小児医薬品開発ネットワーク構築あるいは、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部改正による特定用途医薬品の優先審査適用の明確化など、多様な施策が段階的にとられてきた。その効果を評価するには時期尚早のものも一部あるが、殊小児を対象とする臨床試験の実施数という観点では、欧米の実績に水をあけられていることは否めない[4)]。

小児の適応外使用の一層の是正のため、すべてのステークホルダーが引き続き協力してより効果的な対策のアイディアを出し、行動に移すことが求められる。

謝辞

本調査では、対象となる医薬品の日本国内における小児を対象とする臨床開発状況について、可能な範囲で最新情報とする目的で、日本製薬工業協会知的財産委員会の有志メンバーにClinicalTrials.govおよび臨床試験情報で調査した結果の校閲の協力を得た。ご協力に対して深謝いたします。

Points of View

新薬を生み出し育てるライフサイエンスクラスターとは
～ボストンのイノベーション・エコシステムからの示唆～

医薬産業政策研究所　主任研究員　鍵井英之

1　はじめに

国内外には「産業クラスター」、「ライフサイエンスパーク」、「エコシステム」などと呼ばれる、アカデミアやスタートアップ[1]のアーリーな技術シーズを実用化につなげる環境および仕組みが存在している。

筆者はこれまで、核酸医薬、遺伝子治療、再生医療など新規創薬モダリティに着目し、開発パイプライン等の分析を行ったが、これらの分析を通じ、新規モダリティの研究開発では、特にその創製や開発初期の段階においてアカデミアやスタートアップ企業の果たす役割が大きいことを述べた[2),3)]。

製薬企業にとって、近年の創薬モダリティの多様化やICT技術の進化に伴い、グローバルで技術開発のスピードが上がるなど、現在の創薬環境は自社単独での研究開発では新薬を生み出すことが困難になっており、オープンイノベーションにより新しい技術シーズを獲得する流れが進んでいる。一方、アカデミアやスタートアップは、自ら生み出した技術やアイデアを実用化するためのノウハウや資金を持ち合わせていないのが一般的であり、製薬企業との提携や投資家等からの資金調達が必要となる。

本稿では、アーリーな技術シーズを実用化につなげるために重要な役割を果たすエコシステムについて、世界最大級とされる米国ボストンのエコシステムに加え、国内のライフサイエンスクラスターの動向を紹介すると共に、その課題について分析・考察を行った。

なお、本稿では、“エコシステム”という用語を「行政、大学、研究機関、企業、金融機関などの様々なプレイヤーが相互に関与し、絶え間なくイノベーションが創出される、生態系システムのような環境・状態」を意味する「イノベーション・エコシステム」[4]と同じ意味で使用する。

2　世界最大規模を誇るボストンのエコシステム

①　ボストンエコシステムの規模とプレイヤー[5]

ボストンはシリコンバレーと並んで、ライフサイエンス領域で世界最大のエコシステム[6]を形成している（表１）。

ハーバード大学、マサチューセッツ工科大学（MIT）、タフツ大学など世界有数の大学は、多くのイノベーションが生まれると共にエコシステム

1）本稿では「スタートアップ」と「ベンチャー」を同義で扱う。
2）医薬産業政策研究所「創薬モダリティ　開発動向調査　～企業タイプ別　創製・企業買収・導入の視点から～」政策研ニュース No.58（2019年11月）
3）医薬産業政策研究所「新モダリティの開発動向の調査　～核酸医薬、遺伝子治療、細胞治療を中心に～」政策研ニュース No.55（2018年11月）
4）文部科学省 平成31年度 地域イノベーション・エコシステム形成プログラム公募要領（https://www.mext.go.jp/content/1412482_1_1.pdf、2020年１月20日アクセス）。
5）本項の記載は主に、JETRO/IPA New York「世界最大のライフサイエンス・バイオクラスター ボストン」ニューヨークだより（2018年９月）を参照した。
6）Startup Genome「Global Startup Ecosystem Report 2019」より。スタートアップのパフォーマンス、資金調達、企業数、人的リソース、政策などを指標に各地域のエコシステムをランク付けしている。

で中心的な役割を果たす高度教育人材の供給源となっている。

トランスレーショナル・リサーチを推進する中核病院も充実している。独立病院のNIH研究資金調達額では、総額の56％をボストンの病院が獲得しており[7]、特筆すべきは全米上位５施設中４施設（マサチューセッツ総合病院、ブリガム・アンド・ウィメンズ病院、ダナ・ファーバー癌研究所、ボストン小児病院）までが同地に存在することである。

加えて、ボストンには多くのグローバルメガファーマが拠点を有しており（表２）、Facebook、Google、Amazon、Microsoft 等の ICT 企業の拠点もある。

民間の非営利インキュベーション組織であるMassBio は、イベントの開催や業界情報の発信、教育プログラムの提供、業界を代表した政策推進など、ライフサイエンス産業の価値向上のための幅広い活動を行っており、会員企業はボストンを中心に1,200社を超える[8]。CIC（Cambridge Innovation Center）は、主にスタートアップ向けに小規模で使い勝手の良いオフィスを提供しており、ボストンを中心に現在1,800社を超える企業が入居している[9]。投資家、製薬企業なども入居し、ネットワーキングのハブとしての役割も果たしている。

Johnson & Johnsonが運営するJLABSや非営利機関であるLabCentralは、スタートアップ向けに共用ラボスペースを提供している。スタートアップにとっては安価にラボを使用できるメリットがあるが、製薬企業が有望なスタートアップと早期に接点を持つ機会にもなっている。LabCentralへの出資団体は海外製薬企業が多いが国内製薬企業では武田薬品とアステラス製薬が出資している。入居期限は２年である[10]。

上記のように多くのプレイヤーがエコシステムに関わっているが、ボストンのエコシステムはその規模に加え、プレイヤーの地理的集積度が極めて高い点が特徴である（図１）。

ボストンのエコシステムの規模を示す参考として、マサチューセッツ州に本社を置く企業が保有する、バイオ医薬品を中心とした新規モダリティのパイプライン[11]を図２に示す。パイプラインの総数（延べ）は174件であり、癌や中枢神経領域を中心に、米国全体で開発されているNMEの17％、世界全体では約９％を占める（図２）。これは、後述する日本全体のパイプラインと比較すると約８割に相当する。

表１　マサチューセッツ州のバイオ産業

	規模	備考
雇用者数	7.4万人*	10年で35％増加
商業ラボ敷地面積	2.8km^2**	10年で70％増加
NIH 助成金額	年間29億ドル**	カリフォルニア州に次いで全米２位
バイオファーマへのVC 投資額	年間48億ドル*	５年で約３倍
バイオテックIPO 数	年間18件*	米国全体の31％

*2018年、**2019年のデータ
出所）参考資料７より改変。

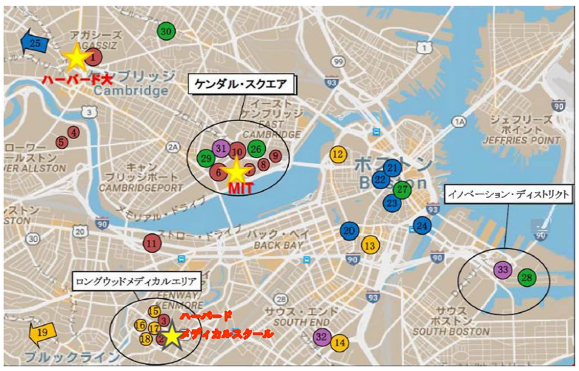
表２　ボストンに拠点を有する主な製薬企業

企業名	ボストン従業員数	2018年売上ランク
Takeda	4,927	16
Sanofi	4,800	6
Biogen	2,400	24
Novartis	2,337	3
Pfizer	2,226	1
AbbVie	1,020	7
Merck & Co	600	5
Amgen	500	9
AstraZeneca	400	12
Bristol-Myers Squibb	400	11

出所）ボストンの従業員数については参考資料７を、2018年売上ランクはEvaluatePharmaのデータを参照した。なお、Takeda の従業員数は Shire 買収の影響を含む。

７）MassBio「2019 Industry Snapshot」
８）MassBio ウェブサイト（https://www.massbio.org/about、2020年１月20日アクセス）
９）CIC 2018　Global impact report
10）LabCentral ウェブサイト（https://labcentral.org/、2020年２月６日アクセス）
11）マサチューセッツ州に本社を置く企業を対象としており、同州で創出されていない場合（導入など）を含む点に留意する必要がある。

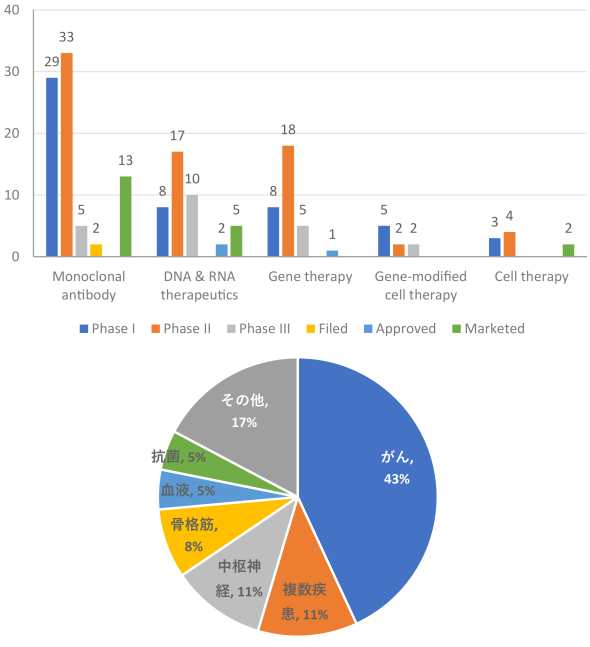
図１　ボストンにおけるエコシステム関連地図



大学・研究機関	病院	政府関連機関	起業支援組織	民間業界団体
1. ハーバード大学 2. ハーバードメディカル スクール 3. Wyss Institute 4. ハーバードビジネススクール 5. ハーバードiLab 6. MIT 7. MITメディアラボ 8. MIT スロン・スクール 9. MIT ILP 10. ブロード研究所 11. ボストン大学	12. マサチューセッツ総合病院* 13.タフツメディカルセンター 14. ボストンメディカルセンター 15. ベス・イスラエル・ディーコネス・メディカルセンター 16. ダナ・ファーバーがん研究所 * 17. ボストン・チルドレンス・病院* 18. ブリガム・アンド・ウィメンズ病院* 19. ユーマス・メモリアル・メディカルセンター	20. マサチューセッツ州国際貿易投資事務所（MOITI） 21. ボストン市庁舎 22. マサチューセッツ・テクノロジー・コラボラティブ 23. マサチューセッツ・クリーンエネルギー・センター 24. 在ボストン日本国総領事館 25.マセチューセッツ・ライフサイエンス・センター	26. ケンブリッジイノベーションセンター（CIC） 27. CICボストン 28. マスチャレンジ 29. ラボセントラル 30. グリーンタウンラボ	31. マスバイオ（バイオインダストリー協会） 32. マスメディック（医療機器協会） 33. マスロボティックス

出所）在ボストン日本国総領事館提供。

図２　マサチューセッツ州に本社を置く企業が有する新規モダリティのパイプライン（開発段階別（上）および疾領域別（下））



出所：EvaluatePharma のデータより集計

② ボストンのエコシステムが形成された経緯

ボストンは19世紀初頭には漁業、19世紀後半は工業都市であったが1920年～1980年にかけて人口は25％減少、中所得の衰退都市であった。また気候も寒冷で税率も高く、企業が移転する魅力も薄かった。

ライフサイエンス都市への転換する原動力となったのは、世界有数の大学群からの豊富な科学的知識が蓄積されたことに加え、これらの大学が高度教育人材の供給源になったことである。さらに、分子生物学の勃興期である1970年代後半から1980年代に、遺伝子工学研究を実施することやその成果物を特許化すること[12]、バイ・ドール法（Bayh-Dole Act）[13]の制定が追い風となり、ハーバード大学やMIT、タフツ大学の研究者らによってBiogen、Genzyme、Genetics Institute などのスタートアップが設立されたことがある。

クラスター形態は、①1970～80年代に大学、公的研究機関、病院、小規模の企業群（スタートアップ）が集積。②1990年代にこれらの研究に対してボストン周辺のベンチャーキャピタル（VC）による投資が開始。③2001年以降に製薬企業がボストンに拠点設置。を経て段階的に発展したが、とりわけクラスター形成初期の段階では大学研究者によるバイオテック企業の設立や、アドバイザリーボード、共同研究などのネットワークの拠点として大学が主要な役割を果たしている。Porterらの調査によると、1980～1997年の間にバイオテック企業の設立に関わった131人のうち54％はボストンを拠点とする組織の出身者であり、52％（67人）は大学教授、そのうちの多く（48/67人）はボストンの大学出身であり、全体の66％は出身組織の職と掛け持ちで所属しており、シリアルアントレプレナーの割合は低い（４％）。特許の取得状況の分析から、1976年から1998年にかけてハーバード、MIT、ボストン大学が主要な役割を果たし、907人の発明者の67％が大学、29％がバイオテック

12）自然界に存在するバクテリアと著しく異なる性質を有し、かつ、著しい有用性を有する新しいバクテリアの発明は自然物ではないとして、その特許性を肯定した Diamond v. Chakrabarty の最高裁判例を指す。
13）1980年に制定された米国特許商標修正条項。大学が米国政府の資金を使って研究した成果物である特許を、政府でなく大学が所有できるようにした法律。

企業、残りの４％が企業と大学の共同所有であった[14]。

また2000年代に入ってからの行政による支援もエコシステムの発展に寄与している。2008年にはマサチューセッツ州ライフサイエンス法（Massachusetts Life Sciences Act）が施行され、スタートアップへの融資、非営利ラボ施設“LabCentral”の研究設備の設置や人材育成、特別な研究施設における上下水道設備などインフラ整備に対する投資、税制優遇など10年間で10億ドルを拠出することが決定、さらに2018年には５年間延長され最大５億ドルを拠出することが決まった。

３　国内のライフサイエンスクラスター

国内でも各地でライフサイエンスクラスターが形成されている。ここでは行政および民間が主導するクラスターの事例を紹介する。

３-１　行政が主導するクラスター形成

①　殿町国際戦略拠点　キング スカイフロント[15]

いすゞ自動車の工場跡地が再開発された川崎市殿町地区には、健康、医療、福祉、環境などの分野の67機関（2019年４月現在）が集積している。殿町地区は、国家戦略特区・国際戦略総合特区・特定都市再生緊急整備地域に指定され、規制緩和・財政支援・税制支援等の優遇制度の適用を受ける。2016年には再生・細胞医療の産業化に向けて「ライフイノベーションセンター（LIC）」を整備、国内外の関係機関とも連携したプラットフォームを構築し、再生・細胞医療の研究開発から品質管理、出荷までワンストップで実現するクラスター形成が進められている。多摩川を挟んで対岸の羽田地区との連絡通路が建設中であり、空港アクセスの改善でグローバル化が進むことも期待される[16]。

②　神戸医療産業都市

1995年の阪神・淡路大震災で大きな被害を受けた神戸の経済を立て直すため、震災復興事業として「神戸医療産業都市構想」が始まり、ポートアイランドに先端医療技術の研究開発拠点を整備すると共に、医療関連産業の集積を図っている。公益財団法人神戸医療産業都市推進機構（FBRI、本庶佑 理事長）が2000年に設立され、トランスレーショナル・リサーチを核として、神戸臨床研究情報センターをはじめとした研究基盤を整備[17]、2019年12月末現在、医療機関、スタートアップ、製薬企業、CRO や物流など368団体が進出している。神戸医療産業都市の市内経済効果（波及効果含む）は2005年の409億円から2015年には1,532億円に増加。10年後の将来像として、最高水準の医療の提供、神戸発の医療技術のグローバルへの発信、企業間コミュニティ内部で自主・自立的にビジネス化を促進する仕組みの構築、などを掲げている[18]。

③　鶴岡バイオサイエンスパーク

人口減少への対策として、新しい知的産業を興すことを目指して事業がスタートした。2001年にサイエンスパークのコアとなる慶應義塾大学先端生命科学研究所（先端研）が設立。鶴岡市と山形県は、先端研の研究教育活動を補助金で支援すると共に、バイオクラスター形成を推進している[19]。先端研では、世界最先端、最大規模のメタボローム解析装置を有し、2003年に設立したヒューマン・メタボローム・テクノロジーズ（HMT）が2013年東証マザーズに上場、人工合成クモ糸をはじめとした構造タンパク質素材を開発しているSpiber株式会社は、200億円を超える資金調達を行うなど、これまで６社のスタートアップが設立されてい

14）OXFORD UNIVERSITY PRESS「CLUSTERS, NETWORKS, AND INNOVATION」（2005年発行）第10章を参照した。
15）キングスカイフロントウェブサイト（https://www.king-skyfront.jp/、2020年１月29日アクセス）
16）LICリーフレット（http://www.pref.kanagawa.jp/docs/mv4/cnt/f531405/documents/3012licleafletjpn.pdf、2020年１月29日アクセス）
17）FBRI Annual Report 2018（https://www.fbri-kobe.org/about/pdf/annual_30.pdf、2020年１月29日アクセス）
18）神戸医療産業都市ウェブサイト（https://www.fbri-kobe.org/kbic/about/achievement.php、2020年１月20日アクセス）
19）平成30年度厚労行政推進調査事業
「革新的なバイオ医薬品等の創出に向けた研究開発環境の整備に関する研究」

る。

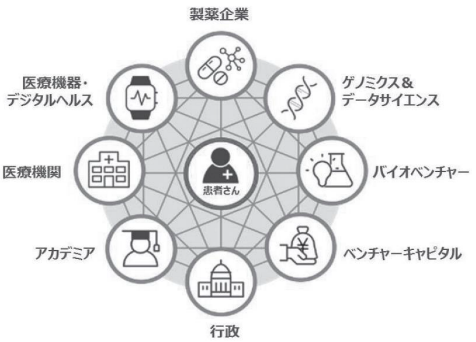
鶴岡市からの委託を受け山形銀行が行った調査[20]によると、サイエンスパーク関連雇用者数、市内研究者数は年々増加しており、クラスターの経済波及効果を年間30億円と試算、2028年には65億円まで伸長すると予想している。一方課題として、「研究開発･創業から事業化まで一貫した支援体制の構築」や「県内外企業・クラスターとの連携促進」を指摘している。

3-2　民間主導で進めているクラスター形成

①　湘南ヘルスイノベーションパーク（湘南アイパーク）

湘南アイパークは、武田薬品工業が湘南研究所を開放することにより設立。湘南アイパークのビジョンは、革新的なアイデアを社会実装することであり、オープンでイノベーティブなエコシステム（図３）の醸成をミッションとする。武田薬品工業が創薬に活用していた先端研究機器をそのまま利用できる共用実験室や製薬企業社員によるサイエンスメンタリングや薬事相談、起業トレーニング、法律事務所による知的財産取得の支援やベンチャーキャピタルとのネットワーク構築など、スタートアップの起業や事業推進を支援している[21]。入居企業は55社となっており、スタートアップの入居に加え製薬企業（田辺三菱製薬やあすか製薬、マルホ）が研究拠点を設けている[22]。製薬企業にとっても有望なスタートアップとの接点を持つことで、新しい技術シーズに早期にアクセスし獲得することが可能になる。

図３　ヘルスケアにおけるエコシステム



出所：参考資料21

②　ライフサイエンス・イノベーション・ネットワーク・ジャパン（LINK-J）

LINK-J（岡野栄之 理事長）は、三井不動産が中心となって2016年に設立した一般社団法人であり、歴史的に製薬企業が集積する東京・日本橋を中心としたライフサイエンスのエコシステム構築を推進している。会員数は400を超え、加盟団体は製薬企業、スタートアップ、アカデミア、業界団体など多岐にわたる。ライフサイエンス分野に限定したテナント誘致やコミュニケーションラウンジの設置などハード面の整備と共に、2018年には400件を超える交流イベントが開催されるなど、アカデミア、スタートアップ、製薬企業、VC などの交流の機会を設けている。国内外のアクセレレーター（産学連携やエコシステムの推進組織）とも連携し、グローバルでの交流イベントを開催するなどネットワークを構築している[23]。

4　分析と考察

本項では、筆者が考える国内外のエコシステムの違いや、国内で進められているエコシステムの特徴、課題等について挙げる。（まとめは表３参照）

国内各地のクラスター形成推進活動の成果と課題

本稿で取り上げた国内各地のクラスターの成り立ちは様々であるが、コアとなる研究機関や技術領域を軸に産業集積を行い、競争力を有する技術やシーズを継続的に創出、実用化させるためのソフトおよびハード面での仕掛け作りが進められて

20）山形銀行作成「サイエンスパークのさらなる発展に向けて 鶴岡市委託事業 慶應義塾連携協定地域経済波及効果分析等業務 調査結果概要」（2019年３月29日）
21）井形英樹ら ファルマシア　Vol.55 No.1　2019（https://www.jstage.jst.go.jp/article/faruawpsj/55/1/55_30/_pdf/-char/ja、2020年１月20日アクセス）
22）湘南アイパークウエブサイト（https://www.shonan-health-innovation-park.com/、2020年１月20日アクセス）
23）曽山明彦「東京・日本橋をライフサイエンス産業の拠点に」ファルマシア Vol.53 No.4　2017 p.333-337

表３　筆者が考える国内クラスターの課題と対応策

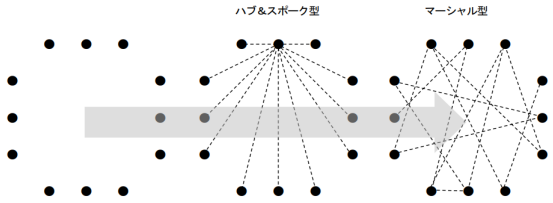
課題	論点	考えられる対応策
大学、病院などがクラスター内にない。	研究機関からの技術シーズの獲得や人的交流によるイノベーション推進、橋渡し研究への影響。	・クラスター外からのスタートアップの誘致に注力。 ・より実用化に近いステップの推進に機能を特化。 ・外部の大学、研究機関との提携契約や人材交流などネットワーク形成の仕組みづくり。
人材の流動性・高度教育人材の不足。	エコシステムがスタートアップのターンオーバーを支え、付加価値を生むために必要不可欠。	・産学間での人材交流の活性化。 ・経営人材育成への積極的な産学官の関与。
特に開発早期段階での、リスクマネーの供給不足。	VC や製薬企業が手を出せず、有望な技術シーズが育たない。	・投資を呼び込む新たな仕組みの導入。 ・不確実性が高いが有望な技術に対する公的資金の投入。 ・コンソーシアムなどによるリスク分散。

いる点は概ね共通している。その成果として、スタートアップの起業や資金調達、製薬企業の集積およびそれらによる地域経済効果などが生まれている。

一方、ボストンと比較すると、規模はさておき国内のライフサイエンスクラスターにはそれぞれ克服すべき課題もある。第一に、新しい技術シーズへの持続的なアクセスである。例えば、特定の技術に依存して産業集積を図った場合に、国際的な競争力をいかに維持するか、あるいは他の技術にとって代わられるなど技術の陳腐化にどう対応するかなどが挙げられる。国内外からのアクセスが悪く近郊に大学や病院が無い場合は、新規の技術シーズへのアクセスや専門知識の吸収、専門人材を確保するハードルも上がる。

第二に、エコシステムが新たな価値を創造するためには、構成員（入居企業や加盟企業など）が“マーシャル型”のネットワークを形成することが重要である（図４）[24]。具体的には産学官による共同研究や事業提携、スタートアップのボードメンバーなどを通じた知識の交流が挙げられ、クラスターに集積した企業間あるいはクラスター間でこのようなネットワークが形成されるよう、各クラスターの特徴を活かした戦略的な取り組みが必要であろう。

図４　ノードからマーシャル型への移行概念



出所：参考資料24

人材流動性の確保と高度教育人材の育成

エコシステムが機能するには、人材の流動性が重要である。例えば日本の大学発スタートアップの５年生存率は77％、10年生存率は53％（米国ではそれぞれ49.6％および33.6％）との報告がある[25]が、エコシステムが機能するためにはこのような雇用のターンオーバーを吸収できるだけの労働市場が必要とされる。国内では、規模が小さなクラスターもあり、スタートアップのターンオーバーを支えるだけの新たな雇用の創出が起こりにくいことが想定される。

また、製薬企業や大学、スタートアップ、VC間での人材の行き来が少ないことも人材の流動性が低い要因の一つであると考えられる。例えば、日米の創薬型ベンチャー企業10社の経営者について調査した結果では、米国では、製薬企業の出身者が90％であったのに対し、国内では40％であった[26]。国内スタートアップでは報酬面でリスクに

24）「北陸地域におけるライフサイエンス分野の産業集積」に関する調査及び研究報告書～ライフサイエンスクラスターの更なる発展に向けて～ 平成29年３月 一般財団法人北陸産業活性化センター
25）「平成30年度産業技術調査事業（大学発ベンチャー実態等調査）報告書」平成31年２月 株式会社価値総合研究所
26）経済産業省「伊藤レポート2.0～バイオメディカル産業版～」（バイオベンチャーと投資家の対話促進研究会報告書）（2019年７月18日改訂版）

見合ったプレミアムが得られにくい面もあるが、国内製薬企業では、一般に部署を異動する頻度が高くPh.D.やMBA保有率も低いなどエコシステムの担い手となるだけのスキルの不足も否めない。前述のMassBioの起業家育成プログラムでは、バイオ領域での経験が豊富な起業家がメンターとなり次世代の経営者の育成を進めているが、国内においても“どこに行っても通用する人材”の育成に対し、エコシステムに参加する産学官がそれぞれ責任を持つことが重要ではないだろうか。

リスクマネーの供給不足

特に不確実性の高い開発早期段階では、VCも製薬企業も投資のハードルが上がる。

製薬企業にとって、特に新規モダリティのような自社ノウハウが蓄積していない技術領域では、創薬基盤を構築するためのコスト（例えば、知識の習得、製造や品質管理、専門人材の確保など）を伴う。VCも製薬企業が投資できないような不確実性の高い段階での投資はハードルが高い。

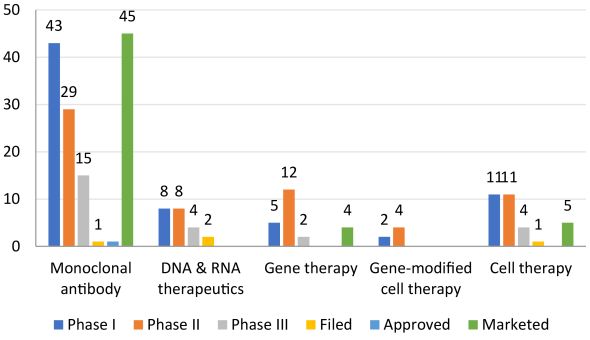
海外では、エンジェル投資家や寄付を行う篤志家がリスクマネーの供給において一定の役割を果たしていると考えられ、また、投資家向けのガイダンスである伊藤レポート2.0[26]では、「上場市場の設計と機関投資家のリスクマネー供給を実現するための環境整備を早急に実施することが必要である」としているが、開発リスクが高くとも成功すれば産業をリードし得るような有望な技術シーズに対しては、投資家のみならず、製薬企業や行政も含めてリスクを分散して負担し合うような取り組みが必要であろう[27]。

世界の人材・投資を引き付ける国際拠点形成への期待

2019年６月に統合イノベーション戦略推進会議にて決定された「バイオ戦略2019～国内外から共感されるバイオコミュニティの形成に向けて～」では、世界の人材・投資を引き付ける国際拠点の形成が掲げられており、国内で２圏程度を選定し、一定期間、出資･融資支援、補助金等資金的支援、規制改革、事業化支援等の必要な総合的支援を政府一体となって行うこととされ、現在具体的な検討がされている。国内各地のクラスターが人材や資源の取り合いになってしまっては、産業全体としてマイナスであり、それらの強みを統合するような機能が必要かもしれない。

大学発バイオベンチャーが世界的企業まで成長した事例は、米国では数多く見られるが、国内ではそのような事例はない。しかしながら昨年アンジェス社の遺伝子治療薬コラテジェンが承認されるなど、アカデミアで生まれたシーズがスタートアップを通じて実用化に至る事例も出てきた。日本の科学技術における国際競争力は低下傾向にあるとの指摘もあるが、国内には多くの新規モダリティのパイプラインがある（図５参照）。これらの技術シーズが現在の国内のライフサイエンスクラスターおよび今後新たに整備されるバイオコミュニティ圏を通じて世界に先駆けて実用化されることを期待したい。

図５　国内企業が有する新規モダリティのパイプライン



パイプラインの延べ総数は217件であり、cell therapy（主に間葉系幹細胞や再生医療）領域ではマサチューセッツ州（図２参照）を上回る規模にある。
出所：EvaluatePharmaのデータより集計

（おわり）

27）岡田羊祐（2018）『イノベーションと技術変化の経済学』日本評論社。においても、社会的に望ましい影響が期待できるが、民間ではリスクが大きく十分に担えない研究プログラムに対する政府助成の重要性について述べられている。

医療情報の更なる利活用に向けて
～個人情報保護の観点から～

医薬産業政策研究所　統括研究員　森田　正実
医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之
医薬産業政策研究所　主任研究員　中塚　靖彦

日本政府は2019年６月21日に決定した「経済財政運営と改革の基本方針2019」（骨太方針）[1]に「イノベーションの推進を図ること等により、製薬産業を高い創薬力を持つ産業構造に転換する」という一文を盛り込んだ。今回の骨太方針には、がんゲノムをはじめとしたデータやテクノロジーを活用した創薬支援の必要性が明記されている。副題には「『令和』新時代：『Society5.0』への挑戦」というメッセージが掲げられている。Society5.0の実現を目指す動きとしてカギとなるのがデータ流通である。

昨年2019年１月にスイス・ジュネーブで開催された世界経済フォーラム年次総会（ダボス会議）[2]にて、安倍晋三首相がスピーチで「Data Free Flow with Trust（信頼性のある自由なデータ流通）」という言葉を提唱したことも記憶に新しいところである。また、首相は昨年６月に大阪で開催されたG20首脳会議の場でも「世界的なデータガバナンスが始まった機会として長く記憶される場としたい」と述べ、個人情報の安全性確保やデータ管理の高度化に向けた国際ルール作りを主導する考えを表明している。

実際、国際社会ではデータ技術の進歩とともにデータガバナンスのためのルール整備が進んでおり、そのルールには各極によって特徴がある。例えば、GAFAなどの巨大IT企業があるアメリカの場合は、個人データの自己管理を前提として、データを集積管理する企業などがプライバシーを配慮しつつ活用を進める対応が認められている。その一方、プライバシーや個人情報の取り扱いに厳正なヨーロッパでは「個人情報保護」の観点が重要視されており、「GDPR」によってより厳格なルール化が行われている。中国においては国家としてのデータ管理の重要性が強く打ち出され、中国政府は2017年に施行したサイバーセキュリティー法で、国家安全の目的から、国内で集めたデータの国外への持ち出しを制限し、国がデータを管理しデータを囲い込む政策をとっている。

わが国もデータ駆動型の産業競争力強化を実現するために、産業データ、個人データ利活用や情報保護等に関する制度、ガイドラインの見直し、データ共有を実施する事業者の認定制度等の整備を行っていく必要がある。2019年12月には個人情報保護法の制度改正大綱が発出され、遅れていた次世代医療基盤法の匿名加工事業者の認定が行われるなど、わが国においても個人情報保護の観点からデータを活用するためのルール整備等が進みつつある。そこで、本稿では個人情報保護法改正および次世代医療基盤法を中心に、今後、製薬産業が健康・医療データをさらに活用していくのに

※）医薬産業政策研究所ではビッグデータの製薬産業に関する課題を研究するために、所内に『医療健康分野のビッグデータ活用・研究会』を2015年７月発足させた。今回の報告は、新潟大学　鈴木 正朝先生の講演など、『研究会』の調査研究に基づいてまとめたものである。

1）「経済財政運営と改革の基本方針2019」、内閣府、https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/2019/2019_basicpolicies_ja.pdf

2）「世界経済フォーラム年次総会」、外務省、https://www.mofa.go.jp/mofaj/gaiko/davos/index.html

必要な課題は何か、考察したい。

個人情報保護法の改正等の動き

「個人情報保護に関する法律（以下、個人情報保護法）」は、直接的には住民基本台帳ネットワークシステムの導入に伴う住民基本台帳改正を受けて、2003年５月に公布、2005年４月に全面施行された。その後、情報通信技術の発展や事業活動のグローバル化等の急速な環境変化により、個人情報保護法が制定された当初は想定されなかったようなビッグデータの利活用が可能となるなど個人情報の取り扱いの広がりに大きな変化が出てきた。

そのような中、データ駆動活用に対する産業振興や個人の権利の保護を図るため2015年９月に改正個人情報保護法（2017年版）が公布され、2017年５月に全面施行となった。この際の議論において、国際的な動向も勘案しながら、個人情報保護法は３年ごとに見直しをすることになった。この３年ごとの見直しに対応すべく、昨年より次回改正の議論が本格化し、2019年12月13日に「個人情報保護法　いわゆる３年ごと見直し制度改正大綱」[3)]が発出された。2020年１月14日までパブリックコメントが募集されていたところである。この個人情報保護法改正大綱に記載されている製薬産業にとって関心の高い点を以下表１に記載する。

表１

章	概要
第４節　２. 「仮名化情報（仮称）」の創設」	一定の安全性を確保しつつ、イノベーションを促進する観点から、他の情報と照合しなければ特定の個人を識別することができないように加工された個人情報の類型として「仮名化情報（仮称）」を導入することとする。 この「仮名化情報（仮称）」については、本人を識別する利用を伴わない、事業者内部における分析に限定するための一定の行為規制や、「仮名化情報（仮称）」に係る利用目的の特定・公表を前提に、個人の各種請求（開示・訂正等、利用停止等の請求）への対応義務を緩和し、様々な分析に活用できるようにする。
第４節　３. 「公益目的による個人情報の取り扱いに係る例外規定の運用の明確化」	現行の個人情報保護法において、「人の生命、身体又は財産の保護のために必要がある場合であって、本人の同意を得ることが困難であるとき」や「公衆衛生の向上又は児童の健全な育成の推進のために特に必要がある場合であって、本人の同意を得ることが困難であるとき」などの利用目的や第三者提供の制限の例外規定があり、個人情報の公益目的利用についても、一定の場合では許容されると考えられるところ、また、これまで当該例外規定が厳格に運用されている傾向があることから、想定されるニーズに応じ、ガイドラインやＱ＆Ａで具体的に示していくことで社会的課題の解決といった国民全体に利益をもたらす個人情報の利活用を促進することとする。
第４節　４.(3) 「提供先において個人データとなる場合の規律の明確化」	いわゆる提供元基準を基本としつつ、提供元では個人データに該当しないものの、提供先において個人データになることが明らかな情報について、個人データの第三者提供を制限する規律を適用する。
第６節　３. 「外国にある第三者への個人データの提供制限の強化」	移転元となる個人情報取扱事業者に対して本人の同意を根拠に移転する場合は、移転先国の名称や個人情報の保護に関する制度の有無を含む移転先事業者における個人情報の取扱いに関する本人への情報提供の充実を求める。 また、移転先事業者において継続的な適正取扱いを担保するための体制が整備されていることを条件に、本人の同意を得ることなく個人データを移転する場合にあっては、本人の求めに応じて、移転先事業者における個人情報の取扱いに関する情報提供を行うこととする。
第７節　２. 「行政機関、独立行政法人等に係る法制と民間部門に係る法制との一元化」	行政機関、独立行政法人等に係る個人情報保護制度に関し、規定や所管が異なることにより支障が生じているとの指摘を踏まえ、民間、行政機関、独立行政法人等に係る個人情報の保護に関する規定を集約・一体化し、これらの制度を委員会が一元的に所管する方向で、政府としての具体的な検討において、スケジュール感をもって主体的かつ積極的に取り組む。
第７節　３. 「地方公共団体の個人情報保護制度」	現在条例で定められている地方公共団体が保有する個人情報の取扱いについて、法律による一元化を含めた規律の在り方、地方公共団体の個人情報保護制度に係る国・地方の役割分担の在り方に関する実務的論点について地方公共団体等と議論を進めることとする。

出所：個人情報保護法　いわゆる３年ごと見直し　制度改正大綱（医薬品産業関連部分を抜粋）

3）個人情報保護法　いわゆる３年ごと見直し制度改正大綱　https://www.ppc.go.jp/files/pdf/seidokaiseitaiko.pdf

まずもっとも注目する点としては、第４節２項に、新たに「仮名化情報（仮称）」が記載されたことである。個人情報保護法では病歴等を含む個人情報が「要配慮個人情報」に位置付けられ、企業等が医療データを活用するためには個人の同意が必要であった。研究活用を進めるため次世代医療基盤法（後述）が制定され、医療機関における丁寧なオプトアウトでの収集と認定事業者による匿名加工により二次活用をすすめようとしているが、この「仮名化情報」という個人情報の取り扱いにより、将来的に二次活用を行う要件等が整備されていくことが期待される。

ここ数年、Cookie等の識別子に紐づく個人情報ではないユーザーデータを、提供先において他の情報と照合することにより個人データとなることをあらかじめ知りながら、他の事業者に提供する事業形態が出現している。このような本人関与のない個人情報の収集方法を規定すべく、第４節４項⑶では提供元基準を基本とし、個人データの第３者提供を制限する規律を取り入れることとした。このような規律によって、個人情報としての管理の下で適切に個人データが提供されることとなる。

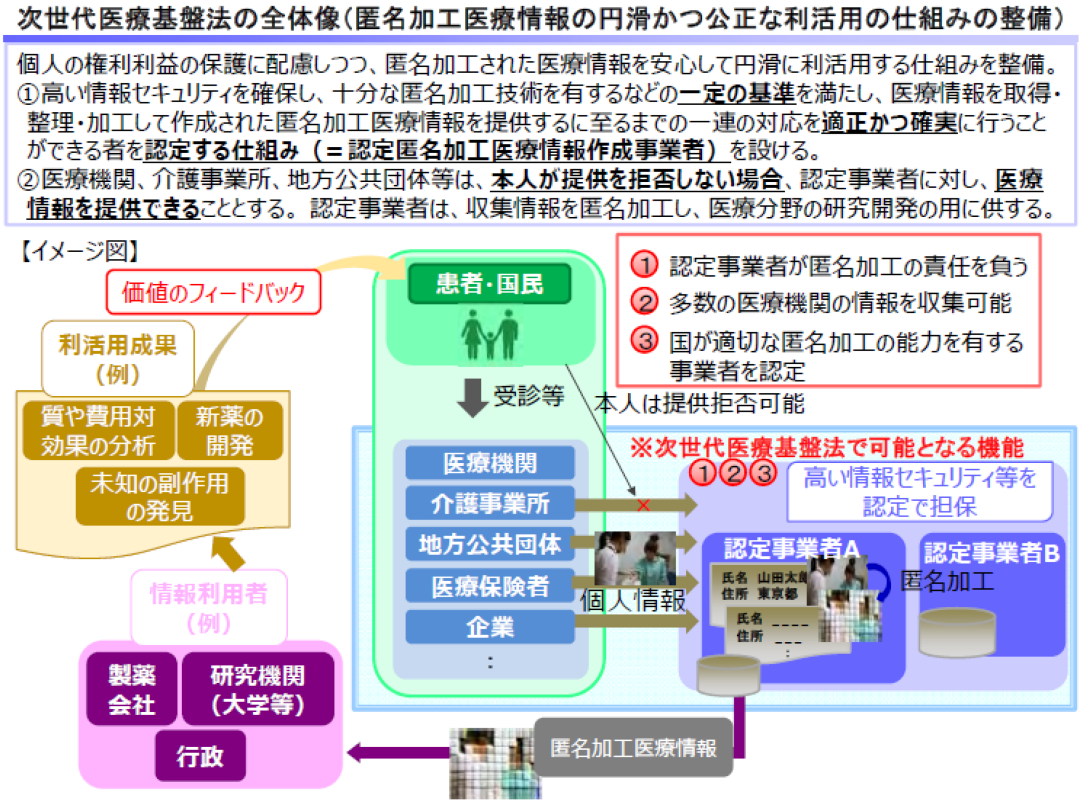
また、第４節３項の「公益目的による個人情報の取り扱いに係る例外規定の運用の明確化」では、具体的事例として、「安全面や効果面で質の高い医療サービスや医薬品、医療機器等の実現に向け、医療機関や製薬会社が、医学研究の発展に資する目的で利用する場合」が取り上げられた。いわゆる公益性の概念が広がり、民間企業の活動の一部も公益性のある活動として捉えられれば、２次活用において民間企業のデータへのアクセシビリティが向上することが期待できる。例示にもあるように、医学研究の発展に資する医薬品等の創出を目的とした民間企業によるデータの利用といった公益性の高い活動について、ガイドライン等による明確化を進めてほしい。

また、第６節３項の「外国にある第三者への個人データの提供制限の強化」では、同意を取る際に、域外移転時の移転先の明示が求められることとなる。一般的に医薬品等の研究開発においては、臨床試験により日本で取得したデータを海外の事業者や審査当局等に提供（移転）するケースが存在する。しかしながら、臨床試験に参加してもらう際の被験者への同意取得を行う時点では、承認申請する国は未確定であり、個人データの提供（移転）先についての詳細な説明は困難である。この海外へのデータ移転時の対応については、取り扱う事業者の負担や実務に十分配慮され、過度な負担とならないような検討を期待したい。

第７節２項、３項には、個人情報の保護に関する規程を集約・一体化することが記載された。予てより指摘のあるところであるが、行政機関、地方公共団体など規程や所管が異なることにより日本の個人情報保護法制はおよそ2,000個にも及ぶ法律と条令群によって構成されているといわれている（個人情報保護法2,000個問題）。例えば、2015年改正で新たに導入された「個人識別符号」という用語・概念を採用している条例が極めて少ないため、個人識別符号に該当するゲノム情報、生体識別システム等で生成された特徴量情報単体が各自治体では「個人情報」に該当しないところも出てくるなど、国内で統一がとれていない状況となっている。また、上述の第４節３項における「学術研究目的の適用除外」規定をもたない個人情報保護条例が多数存在し、公立研究機関、公立大学、及び公立病院等の学術研究利用にそれぞれの自治体の条例の適用が課されることになり、自治体ごとの個人情報保護審査会の承認を得る必要があるなど学術研究等の発展の妨げになっているのが現状である。今後、製薬産業においては医療分野から生活分野まで分野を横断してビッグデータ解析が効果的に行われることが期待されるため、個人情報の取り扱いが各自治体でバラバラなことによってデータ利活用が妨げられないよう、土台となるルールを統一することが必要であろう。

４）仮名化情報：氏名等特定の個人を直接識別できる記述を、他の記述に置換・削除し、加工後のデータ単体からは特定個人を識別できないよう加工したもの。個人データに該当する。

図１　次世代医療基盤法の概要



出所：「次世代医療基盤法」とは；内閣府

次世代医療基盤法による取り組み

国内における医療データの活用を考える上で、期待される取り組みの一つが、「医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報に関する法律（以下、次世代医療基盤法）」[5]に基づくインフラ整備である。2017年５月に施行された改正個人情報保護法によって、病歴等を含む個人情報が「要配慮個人情報」に位置付けられ、オプトアウトによる第三者提供が禁止されたことにより、医学研究等における医療情報の活用に支障が出るのではないかと懸念された。予てより診療行為のアウトカムを含んだ電子カルテを中心とした全国規模のデータベース構築の重要性も認識され、その構築に向けた取り組みについての議論もあった[6]。

こうした背景のもと、医療分野の研究開発を推進するために2018年５月に施行されたのが、次世代医療基盤法である。この法律によって、高いセキュリティや匿名加工技術などの一定の基準を満たす事業者（認定匿名加工医療情報作成事業者（以下、認定事業者））を認定する仕組み[7]が定められ、さらにこの認定された事業者に対しては、医療機関等がオプトアウトで要配慮個人情報を含む医療情報を提供でき、匿名加工したうえで、その情報を医療分野の研究開発に提供できることが定められた（図１）。

2019年12月には次世代医療基盤法の認定事業者が認定され、2020年１月より本基盤法における認定事業者の活動が開始している。この認定事業者の第１号は、一般社団法人ライフデータイニシアティブであり、本事業者は京都大学を中心とした

５）医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報に関する法律
https://elaws.e-gov.go.jp/search/elawsSearch/elaws_search/lsg0500/detail?lawId=429AC0000000028
６）医薬産業政策研究所、「医療健康分野のビッグデータ活用研究会報告書　Vol.３」、（2018年５月）
７）「次世代医療基盤法に基づく事業者の認定について」、内閣府、https://www8.cao.go.jp/iryou/nintei/nintei/jigyousha/pdf/shiryou.pdf

千年カルテプロジェクト[8]を基盤とした事業者である。ライフデータイニシアティブ社は「健康・医療全般の情報の利活用者、参加施設へのサービス展開により、日本の医療発展に寄与できる事業を行うと共に医療の質・効率性や患者・国民の利便性向上、臨床研究等の研究開発、産業競争力の強化、持続可能な利用システム実現へ貢献すること」を事業の目的としている[9]。

医療施設ネットワークの拡大や、電子カルテ情報の集積、集積データのクレンジングなどを進めているが、当初は「市場調査代行」ならびにデータベース研究による論文作成を支援する「学術支援」サービスを開始時には予定しており、体制が整い次第「製造販売後調査支援」、「匿名加工情報提供」[10]などのサービス提供を本格化する予定である。製薬企業等の民間企業が利用者となるが、現時点では実際にどのような項目、粒度のデータが利活用可能になるのか等不透明な部分もある。当初の準備期間を通じて、データの内容やニーズなどを共有化するなど、利活用する民間事業者との連携を深める必要があるだろう。

今後、上述の認定事業者のサービスにより医療情報の利活用が進んでいくことが期待されるが、この次世代医療基盤法の仕組みにはいくつか課題も感じる。

まず一点目として、特異性が高く個人を特定しうる記載内容（希少疾患、超高齢者の情報等を含む）や画像データ（脳のスキャンデータ、レントゲン、臓器写真等）等の匿名化の取り扱いについてである。このような情報では個人の特定を防ぐため、記述や画像を削除、もしくは丸め処理をするといった匿名化の処理が考えられ、提供データとしてオリジナルの情報が得られない恐れがある。特に、今後の希少疾患に対する研究開発や医療の層別化の進展、画像解析 AI など先進技術の活用を見越した場合、「狭くても深いデータ」の価値はますます増大していくと考えられ、特異性の高い医療情報の二次利用の活用（可能性）についてさらに議論していく必要があるだろう。

二点目として、ゲノム（オミックス）データの情報提供についてである。一般にゲノム情報は個人識別符号に該当するため、匿名加工そのものができない。つまり、個人情報そのものであり、個人の同意を得なければ、次世代医療基盤法のスキームの中では活用することができないこととなる。今後の医学研究、創薬研究においては、ゲノム（オミックス）データと医療データ、及び日々の生活データ等とを連結し、疾患の発症、悪化のメカニズムや予後の予測、あらたなバイオマーカーの発掘等へとつなげることは重要なテーマであり、ゲノム（オミックス）データの提供ができる仕組みについて更なる検討が必要であろう。

三点目には、認定事業者が取り扱うデータは数百施設から収集された一般の診療情報（電子カルテ情報等）のため、データの正確性や測定項目の欠落、検査値の単位や各コードの不整合等が存在することが考えられることである。この点は次世代医療基盤法の問題というよりは、電子カルテ、EHR の標準化や構造化といったそもそものデータの質の問題であるが、匿名加工医療情報の利活用範囲が製造販売後や市場調査など特定の領域に限られてしまうことが懸念される。次世代医療基盤法の運用スキームの中で、レジストリーのように、疾患によっては収集データのフォーマットを事前に決めてテンプレートのようなものを用いデータ収集を行うなど、データの質を高める工夫も必要かもしれない。

最後に、製造販売後や市場調査の領域では、既に市販データベースを活用しデータベース活用事業を行っているメディカル・データ・ビジョンや

8）医薬産業政策研究所、「医療健康分野のビッグデータ活用研究会　報告書 Vol.２」、(2017年４月)
9）2019年12月19日ニュースリリース、NTT DATA、https://www.nttdata.com/jp/ja/news/release/2019/121900/
10）匿名加工医療情報：特定の個人を識別することができないように個人情報を加工して得られる個人に関する情報であって、もとの個人情報を復元できないようにしたもの。例えば、紙面に関する項目の全てを削除したり、年齢の表記を全て年代の表記に一般化して置き換えたり、特定の個人の情報を示す項目などを削除するなどの措置をしたもの。個人データに該当しない。

JMDC などの民間企業もあり、データの質や量、及び認定事業者のデータ利用料も含め、既存事業者との差別化を図っていくことも期待される。

「仮名化情報」利活用のための体制整備

また、今回の個人情報保護法改正によって設定される「仮名化情報」を医療分野で収集・分析できるように体制を整備していくことも製薬産業にとっては重要な検討テーマである。

個人情報保護法改正大綱で示された「仮名化情報（仮称）」は、匿名加工情報等の非個人情報と異なり、「個人情報」であって、第三者に提供するためには依然として本人の同意が必要となる。ただし、仮名化情報は一見で個人が識別されないように氏名、住所、カルテ番号等を削除した情報であり、一定の義務の下で一人ひとりの正確な履歴データをそのまま２次活用でも使えることが期待される情報である。したがって、次世代医療基盤法が、個人情報保護法（一般法）に対する医療分野での特別法として制定されたように、仮名化情報を取り扱えるような新たな法の制定も一つの方策であろう。

もちろん、仮名化情報は個人情報であり、適切な利用目的の範囲内で利活用できるようにする前提であることは言うまでもない。この「適切な利用目的」は、個人情報保護法改正に伴って提示されるガイドラインやＱ＆Ａ等の細目通知なども考慮しながら明確化していくことが期待されるが、仮名化情報を取扱いできる「対象をどうするか」と「どのような利用」に限定するかといった検討がポイントとなるだろう。すなわち、仮名化を担うデータ取扱い主体である「対象」をあらかじめ指定された資格者（例えば医師や指定された研究者など）に制限し、社会性、公益性の高い「利用目的」に限定するなど種々の法定の制限の下に、「仮名化情報」という個人情報提供のルール化を検討するといった慎重なスタンスが必要となる。

例えば、利用目的としては公益性を軸に、①学術研究目的･公衆衛生目的（適用除外条項の整備）と②データ提供者への分析データ還元（治療、予防につながるデータ提供）が認められるべきである。次に、社会的なコンセンサスの形成を図りながら、③民間企業の創薬目的、次いで、④健康ソリューション開発目的などの類型を示したうえで、一定の公益性評価軸に沿った活用を検討するなどが考えられる。

新たなデータガバナンス概念の提唱

ヘルスケア領域のデータ利活用についてさらに掘り下げた考え方として、世界経済フォーラム（WEF：World Economic Forum）からAuthorized Public Purpose Access（APPA）という新たなデータガバナンスの概念が報告された[11)]。本報告では、適切なデータガバナンスモデルの具体的な構成要素を示し、不適切なデータ利用を避けると同時に、データ利活用のあるべき姿の例としてAPPA が提示されている。

APPA は、個人の人権を尊重する方法として、必ずしも「個人の」オプトインでの同意だけに拠らない新たなガバナンスモデルであり、医学医療の発展や公衆衛生の向上等の、合意がなされた特定の公的な目的のためであれば、必ずしも明示的な個人同意によることなく個人の人権を別の形で保障し、データへのアクセスを許可することで目的とする価値を実現するモデルである。

本報告では、利活用におけるガバナンスモデルの要素として、個人、データホルダー、公益の３要素が整理されており、APPAはそれぞれが過剰に偏る問題ケース（個人偏重、データホルダーの利益偏重、公益偏重）への対応法のひとつとして位置づけられている。

また、利用するデータや個人への影響に応じ、然るべきプロセスを踏む必要があるとし、個人同意に代わって、合意や第三者機関の活用も一つの

11）APPA：Building Trust into Data Flows for Well-being and Innovation ホワイトペーパー（2020年１月17日）、World Economic Forum
https://www.weforum.org/whitepapers/appa-authorized-public-purpose-access-building-trust-into-data-flows-for-well-being-and-innovation

手段として挙げられているが、今後、３要素の扱いに関する議論に基づき、より具体的な方法を示すことでAPPAモデルの信頼性が高まるものと考えられている。一方、経済的に持続可能なモデルとして構築されること、効率的な同意の取得、プライバシーリスクを最小化するテクノロジーの活用などの諸課題も挙げられており、今後更なる議論が望まれるところである。

まとめ

今回は、健康・医療情報の利活用促進の観点から、個人情報保護法の改正、次世代医療基盤法の課題、APPA の概念について触れた。健康・医療情報は通常機微情報であり、プライバシーが保護されていることを前提としてデータ活用を進める必要があるが、データ提供者の一面からのみこれを捉えるのでなく、利活用の目的の側面（公益性）からも議論が始まっていることは注目すべき点であろう。別の言い方をすれば、データポータビリティがありさえすればよいわけではなく、そのデータが誰にどう使われ、どう閲覧され、どうフィードバックされるかという「トラスト」もまた、データエコシステムの重要な要素であると言えよう。

ただし、これらの要素は法律のみで規定できるものではなく、社会の仕組みとして実装することが最も重要である。米欧中をはじめ世界中でデータ利活用の体制が整備されつつある。わが国においても、同意取得の効率化、経済的に持続可能なモデルの構築やプライバシーリスクを最小化するテクノロジーの活用といった諸要素を組み合わせた『社会のデザイン』が必要であり、様々なステークホルダーを交え、早期に議論を開始する必要があるだろう。

英国 NICE の評価から見る医薬品の価値の多面性
－希少・難治性疾患用薬の分析から－

医薬産業政策研究所　主任研究員　中野　陽介
東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学　客員准教授
横浜市立大学医学群健康社会医学ユニット　准教授　五十嵐　中

1．はじめに

英国 NICE では、年間50製品程度の医薬品（適応追加等を含む）が医療技術評価の指定を受け、分析・評価を経て公的医療制度での使用推奨が判断されている。一般的に医薬品は、技術評価（Technology Appraisal、TA）という枠組みにおいて評価が実施されるが、“非常に希少な疾患の治療技術”に関しては Highly specialised technologies（以下、HST）という特別な枠組みが導入され、2015年に初めて評価結果（ガイダンス）が公開された。なお、2020年２月現在、12の技術について HST ガイダンスが公開されている。

これまで、TA に関する様々な調査・研究は行われているが、HSTに関しての調査は限定的である[1)]。そこで、本稿ではHSTとして選定を受けた医薬品に焦点を当て、特にどのような価値が考慮され、評価されているのかといった観点から調査・分析を行った。

図１　HST の主な選定条件（原文抜粋）

- The target patient group for the technology in its licensed indication is so small that treatment will usually be concentrated in very few centres in the NHS
- The condition is chronic and severely disabling
- The technology is likely to have a very high acquisition cost
- The technology has the potential for life long use

出所：NICE highly specialised technologies guidance

2．英国 NICE における医療技術評価の概要

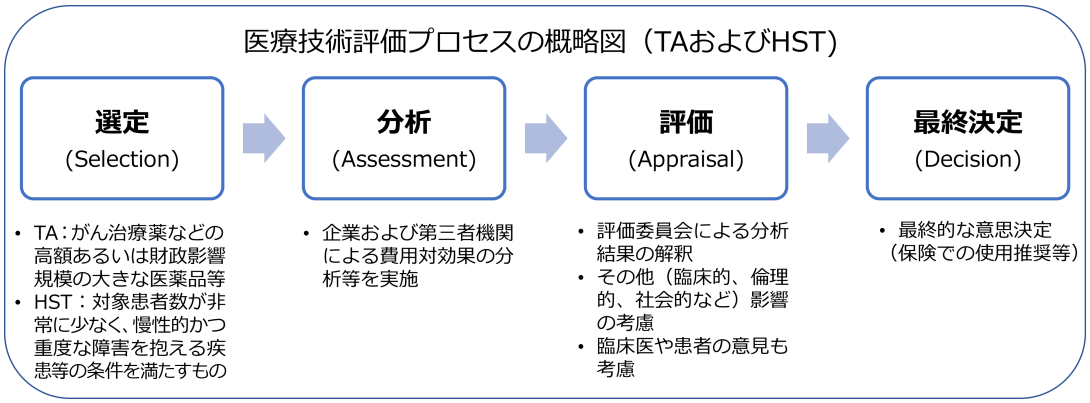
まず、TA および HST に選定される医薬品であるが、TA の対象になるのは、がん治療薬などの高額あるいは財政影響規模の大きな医薬品である[2、3)]。一方、HST は“非常に希少な疾患の治療技術”が対象であり、対象患者数が非常に少ないことに加え、慢性的かつ重度な障害であること、さらに、治療コストが非常に高額で長期使用が想定されることなどの条件をすべて満たす必要がある[4)]（図１）。

TA および HST として選定された医薬品は、企業や第三者機関により費用対効果の分析等が実施され、評価委員会にて分析結果の解釈やその他の影響ならびに臨床専門医・患者の意見等を考慮した上で、最終的に公的医療制度での使用推奨判断が行われる[3、4、5)]（図２）。

なお、HSTでは使用推奨の判断時に用いられる ICER（incremental cost-effectiveness ratio、増分

1）PubMed にて検索結果を比較（https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/?term=NICE+technology+appraisal、https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/?term=highly+specialised+technologies+NICE）
2）日本製薬工業協会　データサイエンス部会 継続タスクフォース６、「費用対効果評価の実践－NICE 技術評価ガイダンスの事例から分析モデルのバリュエーションを学ぶ－」、Ver1.0（2018年９月）
3）NICE technology appraisal guidance（https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance）
4）NICE highly specialised technologies guidance（https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-highly-specialised-technologies-guidance）
5）齋藤 信也、費用対効果以外の要素をいかに扱うべきか？　HTA（医療技術評価）の昨日・今日・明日、薬剤疫学、23（1）Jan 2018：29

図２　NICE における医療技術評価プロセスの概略図



出所：NICE NICE technology appraisalguidance、齋藤 信也、費用対効果以外の要素をいかに扱うべきか？HTA（医療技術評価）の昨日・今日・明日、薬剤疫学、23（1）Jan 2018：29をもとに筆者作成

費用効果比）の基準値（閾値）が大幅に引き上げられるといった特徴がある[3]。TA では通常の医薬品で２～３万ポンド、終末期特例が適用される医薬品では５万ポンドとされる。一方、HSTの基準値は10～30万ポンドに設定され、その基準値は評価対象技術の QALY 増分によって決まり、10QALY以下ならば10万ポンド、10～30QALYまでは「増分QALYの値」×１万ポンド、30QALY以上では30万ポンドとなる。

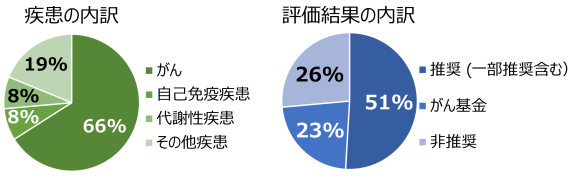
表１　TA および HST の評価レポート数（2015-2019※）

評価レポート数（初公表時点で集計）

	2015	2016	2017	2018	2019※	合計（2015-2019※）
TA	36	50	64	57	53	260
HST	2	1	3	2	3	11

※2019年10月10日時点のデータ

図３　2019年 TA 評価（53件）の内訳



出所：NICE ホームページ上にて公開されている、TA の Guidance and advice list の評価ガイダンスのデータをもとに作成

3-1. 評価結果の全体概要

HST について調査・分析するにあたり、参考として直近の TA 評価についても合わせて調査した[6]。HST の評価ガイダンスが初めて公開された2015年以降の評価実績を見ると、調査実施の2019年10月時点では、TA は年間50件前後で累計260件、HSTは年間１～３件で、累計11件の評価ガイダンスが作成されていた（表１）。さらに、ベンチマークとして2019年の TA（53件）について詳細を確認したところ、疾患の内訳では抗がん剤が６割強を占めていた。また、評価結果は、推奨（一部推奨含む）：51％、Cancer Drug Fund（がん基金）を利用した使用推奨：23％、非推奨：26％であった（図３）。

3-2. HST の評価結果

次に HST（11件）の評価の全体像を表２に示す。モダリティとして最も多いのは抗体医薬や酵素補充療法といった高分子医薬品（４件）であるが、2018年以降、遺伝子治療薬や核酸医薬といった新たなモダリティに属する医薬品も評価されていた。また、適応疾患としては11件全てが本邦で難病として指定されている疾患であり[7]、評価結

6）本調査は2019年10月10日時点で NICE ホームページ上にて公開されていた、TA および HST の Guidance and advice list の掲載情報および評価ガイダンス等を用いて実施したものである。（https://www.nice.org.uk/）
7）本邦の難病情報センターのホームページ上の情報をもとに判断（https://www.nanbyou.or.jp/）

表２　HST（11件）の評価一覧

No.	評価年	製品名	モダリティ分類	適応疾患	評価結果	評価内で特別に考慮された要素※				
						イノベーションの大きさ	介護負荷（家族等）	終末期	公平性	その他
HST1	2015	Soliris	高分子（抗体）	非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）	推奨	○	○	－	－	－
HST2	2015	Vimizim	高分子（抗体以外）	ムコ多糖症 IVA 型	推奨	○	○	－	－	－
HST3	2016	Translarna	低分子	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	推奨	○	○	－	－	－
HST4	2017	Galafold	低分子	ファブリー病	推奨	△	△	－	－	－
HST5	2017	Cerdelga	低分子	ゴーシェ病	推奨	○	△	－	－	－
HST6	2017	Strensiq	高分子（抗体以外）	低ホスファターゼ症	推奨	○	△	－	－	－
HST7	2018	Strimvelis	遺伝子治療	アデノシン・デアミナーゼ欠損による重症免疫不全症（ADA-SCID）	推奨	○	○	－	○	－
HST8	2018	Crysvita	高分子（抗体）	X 染色体遺伝性低リン血症	推奨	－	○	－	－	○
HST9	2019	Tegsedi	核酸医薬	トランスサイレンチン型家族性アミロイドポリニューロパチー（ATTR-FAP）	推奨	○	○	－	－	－
HST10	2019	Onpattro	核酸医薬	トランスサイレンチン型家族性アミロイドポリニューロパチー（ATTR-FAP）	推奨	○	△	－	－	○
HST11	2019	Luxturna	遺伝子治療	遺伝性網膜ジストロフィー（IRD）	推奨	○	○	－	－	○

※定義　○：評価内での考慮が明確、△：言及のみ（考慮が不明瞭）、－：言及なし
出所：NICE ホームページ上にて公開されている、HST の Guidance and advice list の掲載情報および評価ガイダンス等をもとに作成

果は全11件で使用推奨であった。

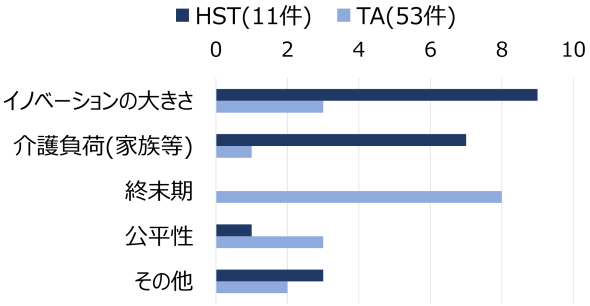
3-3. HST 評価で考慮された要素

続いて、費用対効果の指標である ICER 算出に用いられる QALY と Cost に加えて、評価時に特別に言及され、費用対効果の内外で考慮に至った要素の有無を表２の点線内に整理した。

TA の評価では、QALY と Cost に加えて、“終末期等の致死的な疾患での延命治療（End of Life）”、技術的な観点だけでなく患者にもたらすベネフィットの大きさなども考慮する“イノベーションの大きさ（Significant Innovation）”等が言及され、価値として評価時で考慮されるケースがある[5、8)]。そこで、本調査においては、上述したものに加え、社会的に不利な者への配慮等の観点から稀に言及される“公平性（Equity issue）”、そして介護を要する疾患等で言及される“患者家族等の介護に伴う負荷（Carer、Caregiver）”の観点、そして“その他の要素”に分けて整理を行った。

その結果として、評価内で何らかの要素の考慮が明確であったものは、多いものからイノベーシ

図４　TA と HST における考慮数の比較



出所：NICE ホームページ上にて公開されている、TA および HST の Guidance and advice list の評価ガイダンスをもとに作成

8）Rawlins M, Barnett D, Stevens A. Pharmacoeconomics: NICE's approach to decision-making.Br J Clin Pharmacol. 2010; 70（3）: 346-9.

ョンの大きさ（９件）、介護負荷（７件）、その他（３件）、公平性（１件）、終末期（０件）であった。

これらの評価項目について、HST（全11件）とTA（2019年の53件）とで比較してみたところ、“イノベーションの大きさ”、“介護負荷”についてはHSTでより多く見られた（図４）。HSTに該当する疾患では、従来の治療法と比較して、治療法や疾患管理等を大きく変えるとして、その点が“イノベーションの大きさ”として考慮されているケースが多く見られた。終末期特例が少ない理由として、上述のHST条件（the condition is chronic, the potential for life long useなど）を満たす以上、「余命２年未満･延命３ヶ月以上」の終末期特例の条件を満たす可能性が小さくなることがあげられる。

４．個別の評価事例

ここからは、HST評価内での考慮が多かった“イノベーションの大きさ”、“介護負荷”、“その他の要素”について、どのような要素が考慮され、評価されていたのかを具体的な事例とともに提示する（表３）。

・イノベーションの大きさに関する評価事例

HST5（経口薬によるベネフィットの大きさ）：

ゴーシェ病における経口薬の治療オプションは、“自由に旅行や学校に行けること”、“治療のために仕事を休む必要がなくなること”などが、「健康面を超えたメリット」として、患者に大きな良い影響を与え得るイノベーションと判断されていた。

HST6（治療法の進展の大きさ）：

この治療薬は、小児の低ホスファターゼ症を対象とした治療薬（小さな子供の命を救う可能性がある）であり、本疾患管理の進展に大きく貢献するという点がCost/QALYの枠組みでは捕捉しきれないイノベーションとしてされていた。

・介護負荷（家族等）に関する評価事例

HST9（介護者の負担の大きさ（時間））：

介護者が１日あたり患者の身体的および精神的なケアにどのくらいの時間を要しているかについてのアンケート調査（Caregiver Impact Study）の結果が援用されている。病態進行により介護者の人数が増加することが費用推計に組み込まれてICERにも反映されたほか、「家族の介護負荷・経済的負荷が減ることは、健康面を超えたメリットがある」との言及がある。

表３　HSTガイダンス内での具体的な評価事例

	No.	製品名	適応疾患	考慮要素	考慮方法
イノベーションの大きさ	HST5	Cerdelga	ゴーシェ病	経口薬によるベネフィットの大きさ	意思決定時に考慮（定性的）
	HST6	Strensiq	低ホスファターゼ症	治療法の進展の大きさ	意思決定時に考慮（定性的）
介護負荷	HST9	Tegsedi	トランスサイレンチン型家族性アミロイドポリニューロパチー（ATTR-FAP）	介護者の負担の大きさ（時間）	ICER算出時に考慮（定量的）
	HST11	Luxturna	遺伝性網膜ジストロフィー（IRD）	介護者のQOL低下	ICER算出時に考慮（定量的）
その他	HST8	Crysvita	X染色体遺伝性低リン血症	手術回避がもたらすストレス、リスクの軽減や医療コストの削減	ICER算出時に考慮（定量的）
	HST10	Onpattro	トランスサイレンチン型家族性アミロイドポリニューロパチー（ATTR-FAP）	職場復帰、家庭生活および社会活動への積極的参加、自立の維持等の可能性	意思決定時に考慮（定性的）

出所：NICEホームページ上にて公開されている、HSTのGuidance and advice listの掲載情報および評価ガイダンス等をもとに作成

HST11（介護者の QOL 低下）：

失明に至る可能性のある疾患においては、患者だけでなく介護者の QOL も大きな影響を受けるとして、患者の病態と介護者の QOL の関連を評価した調査結果（視力低下すると介護者のQOL値も低下）を援用しつつ、介護者のQALY損失分も組み入れて ICER を算出している。特筆すべきことは、介護者の QOL の低下と患者の QOL 低下の双方を治療アウトカム（QALY）の計算に組み入れることを認めている点であり、家族等の介護負荷の影響をそれだけ重要視した結果とも言える[9)]。

・その他の要素に関する評価事例

HST8（手術回避がもたらすストレス、リスクの軽減や医療コストの削減）：

骨が脆く骨折等を回避するために複数回の手術が必要となる遺伝性低リン血症において、この治療薬がもたらす手術回避の可能性は、患者のストレスやリスクを軽減し、さらには手術に要する医療費の削減にもつながり得ることが評価された。これらの観点は費用対効果の分析モデル内に組み込まれ、ICERの数値にも反映されている。また、市販後の長期モニタリングによって、明確な数値をもとに、上述の有用性をより適切に評価できる可能性がある点も言及されていた。

HST10（職場復帰、家庭生活および社会活動への積極的参加、自立の維持等の可能性）：

アミロイドポリニューロパチーに対するこの治療薬は、患者の職場復帰、家庭生活および社会活動への積極的な参加、そして自立の維持などを可能にし得るものであり、なお且つ、これらは通常の QOL 評価では捉えきれないものであるとして、最終的な意思決定時に考慮すべきと判断されていた。

5．まとめ

HSTの評価では、多面的な視点から治療技術の価値が議論され、必要に応じて評価結果の中で考慮されていた。考慮の仕方としては、定量的考慮と定性的考慮があり、定量的考慮の場合には、定量化したデータをICER算出時のQALYあるいはCostに組み入れて考慮している。一方、定量化が難しい、あるいは定量化できない要素においては“意思決定時に考慮する”といった定性的考慮の対応が取られていた。現段階ではエビデンスレベルの高いデータが乏しく、定量的な評価に至らない価値要素もあるが、その点については新たなアウトカム指標・測定の研究進展や市販後リアルワールドデータに基づいた再評価の仕組みの検討等が期待される。

加えて、評価時には臨床専門医や患者会等からの「生の声」をもとに、見逃されている価値がないかの議論が行われ[10)]、実際に評価に影響を及ぼしていたケースも見られた。臨床試験で用いられる有効性や QOL 等の評価尺度では患者やその家族等にもたらすベネフィットや負荷を十分に捉えきれない可能性があることを改めて認識するとともに、このような評価プロセスの重要性を評価ガイダンスから読み取ることができた。

最後に、今回は HST という希少・難治性疾患に対する医薬品に焦点を当て、評価における価値の多面性などについて調査・考察をおこなった。しかし、希少・難治性疾患だけでなく、他の疾患に対する医薬品等においても、まだ十分に捉えきれていない、あるいは考慮できていない価値もあると考えられる。

今後、創薬モダリティが拡大し、さらにイノベーティブな治療薬等の創出が期待される中で、医薬品の価値の多面性に目を向け、患者をはじめとしたステークホルダーの意見を踏まえながら価値を考慮していくことは、患者中心の医療およびイノベーション創出という観点からも重要になっていくのではないだろうか。

9）五十嵐 中、「ラクスターナ、英 NICE で給付推奨」、間違いだらけの HTA、医療経済　10.1 .2019
10）井伊雅子・五十嵐中・中村良太「新医療経済学　医療の費用と効果を考える」、日本評論社（2019）

Topics

ヘルスケア分野のエコシステムについて考える
ーデータエコシステムの論点ー

医薬産業政策研究所　統括研究員　森田正実

IT 分野の飛躍的な進展の中で、産業やシステム、社会の大きな変革（パラダイムシフト）が生まれ､「エコシステム」という言葉がよく使われるようになった。ご存知のように、そもそもは自然界の生物と環境の相互作用と継続的に調和した生態系を指す言葉であるが、ビジネスを取り囲む環境を指す「ビジネス用語」になり、今ではあらゆる社会現象の中で調和のとれた継続性のある環境を指すことも多い。まさにバズワードであるが、第４次産業革命と言われる大きな社会変革の中で、キーワードとなっている。

この変革はデータ駆動型社会という新しい社会モデルが生まれつつある胎動でもある。データを制する者がビジネスを制し、社会を制する時代でもある。医療・ヘルスケア分野でも医療データや健康関連データは勿論、生活データや嗜好・行動のデータ、そして個人のゲノムやオミックスといった生体内分子データや個人を取り巻く環境のデータ等々､様々なデータの関係性の解析により、新しい発見やソリューションといった価値が創造される社会に変わろうとしている。

この動きを進め、活性化させていくためには、これらのデータの活用が社会的に、そして経済的に大きな価値を生み出すという認識や事象を国民レベルで広く共有し、データの生成、流通、活用、そして成果の実装化（メリットの享受）がスムーズに循環するデータエコシステムを構築していくことを国家レベルで目指す必要がある。

医療を包含し、社会生活との垣根もボーダレス化した「ヘルスケアの未来」をデータエコシステムの視点で概観してみたい。

エコシステムの概念

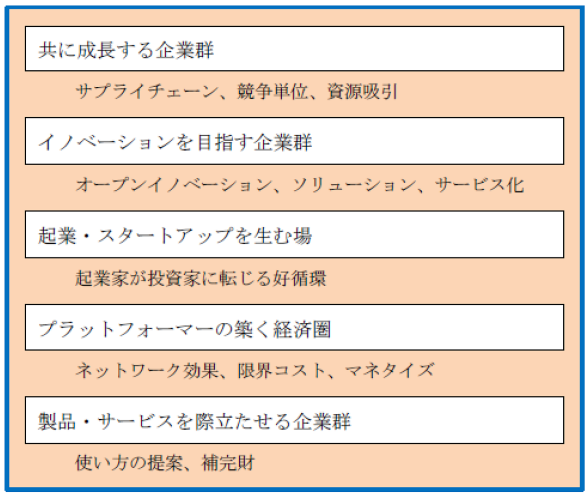
まずエコシステムについて考えてみよう。ビジネス分野で広く使われ始めたのは米国西海岸シリコンバレーのスタートアップベンチャーの成功の成否を説明する概念として、1990年代初めのことと言われる[1)]。スタートアップを取り巻く環境として、ベンチャーキャピタルや関連企業などとの協力体制を進め、起業を成功に導き、全体としてWIN-WIN の好循環を作って、サステナブルになる共存状況をエコシステムと表現した。現在はICT 業界を始めとして、広く産業界で新しいシステムやイノベーションの導入、新しいビジネスやオープンプラットフォームの研究体制の構築といった幅広い対象に「エコシステムを目指す」といった表現で使われている。

例えばICT関連の新規事業の場合では、その事業を推進するメインプレイヤー（たびたびキーストーンと表現される[2)]）、その事業に関わりを持つ多様な企業（ニッチプレイヤー；産業界の垣根もボーダレス）群、そして多くの場合、消費者や社

1）「ビジネスエコシステムとは何か　―その定義と背景を学ぶ―」（2016.9.27. 椙山康生（京都大学経営管理大学院））
「エコシステム」という言葉は1980年代の「省エネルギー・リサイクル」の議論にも用いられている。経営学に持ち込まれたのは、ジェームス・ムーア博士の論文「捕食と被食：競争の新しい生態学」（1993年）

2）建築でアーチの頂上部にある要の石。生態学において生態系に大きな影響を及ぼす種を中枢種という意味でキーストーン種と呼んでいる。

図表１　様々なエコシステムと読み解くキーワード



（出典）SOMPO 未来研究所作成

会を含んだ様々なステークホルダー全てが協創的なエコノミーを形成する。この「エコシステム」でメインプレイヤーは従来の「自前主義」では取得が難しい新しい価値やイノベーションの創出、またバリューチェーンの中での補完的関係を拡大する連携化などを目論むことができる。さらに多くの参加者や社会がメリットを享受できる仕組みとなることでシステムの持続性や拡大へと繋がっていく。

ビジネス用語で表現されている幅広い「エコシステム」を具体的に定義することは難しいが、多くの場合「共進化（coevolution）[3]」を行うプロセスに注目して比喩的な表現として使われている。SOMPO 未来研究所ではビジネスエコシステムの類型として、図表１のようなパターンを説明している[4]。（但し、包括的な分類ではなく、また排他的な分類でもない。）

このエコシステムの類型について、以下に少し補足を入れて説明する。

① 共に成長する企業群

1990年代に使われ始めた

≪中心となるメインプレイヤーと川上企業（原材料、部品など供給）、顧客がエコシステムを形成し、全体の事業効率化を進めて、他のメインプレイヤーやエコシステムとの競争を行う。川上企業との資源吸引[5]の強さが競争力を高める≫

② イノベーションを目指す企業群

2000年代に入り使われだした

≪研究におけるオープンイノベーションの取組みのように、探索、開発、収益化のそれぞれのフェーズで外部リソースの活用や連携を行い、参加者全体として、経営資源を相互利用し、役割分担、協創、効率化を進めるエコシステム。成熟した知的クラスターや産業クラスターの仕組みをエコシステムと表現することもあり≫

③ 起業・スタートアップを生む場

1990年代前半にスタートアップ環境に使われ始め、エコシステムの言葉が広まった。

≪起業を支援する投資家、インキュベーター、アクセラレーター等がエコシステムの構成要員。起業の成功が増えれば、エコシステムの支援者が増え、エコシステムも成長する。更に起業家が投資家へ転じるなど、循環と成長を伴うエコシステムが生まれる。シリコンバレーなど「場所」も重要な要素≫

④ プラットフォーマーの築く経済圏

2010年代～

≪ GAFA[6] に代表されるプラットフォーマーを介するエコシステム。デジタルは必須ではないが、多くの事例でデジタル化とサービス受給者の情報の収集・活用が利益の源泉となっている。構成員同士のつながりは緩やかで、プラットフォーマー、ユーザー（サービス受給者）、事業者（財･サービスの供給者）が構成要員≫

3）共同の進化のこと。前出のジェームス・ムーア博士の論文（1993年）の中で、ビジネスエコシステムの概念として述べられた。
4）「ビジネスエコシステムとは何か」SOMPO 未来研究所レポート vol.75 隅山正敏（2019年９月30日）
5）資源吸引：当該企業が取引相手先企業の限りある経営資源をどれだけ優先的に自分に配分してもらえているかを表す言葉
6）米国を代表する IT 企業 Google、Amazon、Facebook、Apple の４社を指す

⑤　製品・サービスを際立たせる企業群
≪①のエコシステムとの違いは、サプライチェーンのエコシステムではなく、販売プロセスにおけるエコシステムを想起している点。製品・サービスの提供者を中心として、それらを際立たせる補完材[7]（コンテンツ、使い方など）を提供する事業者等がエコシステムを構成≫

よく使われる事例で整理されているが、エコシステムという言葉はこういう類型を超えて独り歩きしている状況がある。しかし、ビジネスに関するこのようなエコシステムの概念の違いは理解しておきたい。また、自律・継続的に共同の進化ができる体制になっていない環境にもエコシステムという表現がされていることも多い。ビジネス以外の社会活動でも比喩的に使われることが多いことも留意しておきたい。

①から⑤の類型で共通していることとして、各エコシステム内では参加者間で協力関係と競争関係が育くまれつつ、コミュニティ全体としては共進的に発展が目指されていることがある。それに加えて同類のエコシステム間で競争、淘汰、相互依存関係などが生まれ、さらに大きな視点でのエコシステムが形成されていく。エコシステムの範囲は一元的ではない。

自然界では森があり、山があり、高原があり、砂丘があり、それぞれにエコシステムが存在し、それらを複数包含した地域のエコシステムがあり、さらに国レベル、世界レベルのエコシステムが存在するように、概念としてのエコシステムも様々な段階の視点がある。

ヘルスケア分野のデータエコシステム

日本におけるヘルスケア分野のデータエコシステムをどのように概念的に捉えたらいいのだろうか。

近未来的に訪れようとしている「データ駆動型社会」においては、取得できるあらゆるデータを仲介として、収集・解析によってデータの解釈を付加・蓄積し、個別のデータに対する判断や予測を行ったり、事象の原因解明やコントロールを行ったり、今まで人類が気付かなかった、あるいは対応が難しかった事柄に新しい発見や価値を与えてくれる。これらがパラダイムシフトを実現していく革新に繋がるが、そのデータの収集や活用が自律的に持続的に拡大していく環境を「データエコシステム」と捉えたい。

ヘルスケア分野では、医療・ヘルス・介護を中心に様々なプラットフォームから取得されたデータが有機的に組み合わされて、新しい価値を生み出すデータエコシステムが形成されていくわけであるが、データ収集や活用において様々なプラットフォーム構築の重要性が認識されている。

一方でプラットフォームの活用が即ちエコシステムとなるという考えは必ずしも正しいものではない。プラットフォームとエコシステムは類似した概念として説明されることもあるが、プラットフォームを使用して提供されるサービスや製品等の供給者や受給者との共進化が得られる環境が創られて、エコシステムが形成される。その意味でエコシステム形成の重要な要素の一つと捉えたほうが理解しやすい。

GAFAはヘルスケア領域のプラットフォーム創りをグローバルレベルで進めており、併せてプラットフォーム内での補完的デバイスやコンピューター解析などのサービスを自らも手掛けている。デジタル化はコスト構造を変えて規模の利益が働き続ける状況を作り出し、プラットフォームを利用する企業やユーザーにはプラットフォーム活用の利便性、効率性、低コスト等により、協創的なエコノミーが形成されている。先ほどの④の類型であり、⑤の類型でもある。日本のヘルスケア全体のエコシステムの中で、これらのプラットフォームをいかに活用するかも、エコシステム全体の拡大と質の改善の有力な方策ととらえるべきである。

7）補完材：ある製品やサービスに対して、互いに補完しあうことで消費者が効用を満たす、あるいは効用が高まる製品やサービスのこと。例としてDVDソフトとDVDプレーヤー、アプリケーションとインターネットインフラなどの関係。

日本のヘルスケア分野という規模でデータエコシステムとデータを収集するプラットフォームの関係を考えてみると、個々のプラットフォームは重要な要素であることは間違いないが、逆に特定の分野のデータを提供する役割にすぎないと捉えることもできる。相補完するプラットフォームとの比較や、代替えを含めたプラットフォーム評価も必要である。プラットフォーム間ではエコシステムに残っていくための競争、淘汰、相互依存関係があり、それぞれのプラットフォームで取得された情報は有機的に連携し、個人を軸としたマルチ情報解析とその成果の提供ができる環境（エコシステム）が形成されていくことが期待されている。既にドメスティックに形成されつつあるものを含め、データの収集・活用に用いるプラットフォームの形成と成長にはこれからもダイナミックな動きが考えられる。その有用なプラットフォーム間をつなぐ国レベル、国際レベルのアーキテクチャー（制度設計・法改正等）が進展していくことが全体のデータエコシステム構築の下支えとなる。

ヘルスケア分野のソリューションと産業の役割

このようなデータエコシステムが形成されるにあたり、次世代の医療・ヘルスケア分野のターゲットとする『目標（ソリューション）』の変化が起こりつつある。すなわち、従来の医療・ヘルスケアの中で行われていた治療や健康対応から、「健康長寿・生活自立支援」といった社会のあるべき方向性を踏まえた目標へと変化しつつある。言い換えると、これがヘルスケア領域におけるデジタルトランスフォーメーションの目的とも重なっている。その活動の源泉となるものがデータであり、多様なデータの持つそれぞれの特性の重要性が高まっている。

このエコシステムを進展させる『ソリューション』創出のために、製薬産業がどのような役割を担っていくことが期待されているのかを考えてみると、従来の創薬だけではないことは明らかである。画期的新薬の重要性が低くなることはありえないと思うが、健康管理や疾患管理、先制医療、予防、疾患治療、リハビリテーション、生活の質といったあらゆるシチュエーションの中で考えると、ソリューションは必ずしも薬とは限らない。デジタルヘルスや疾患管理に使うアプリやデバイスなどの補完材としての位置づけも高まりつつあり、「もの」から「こと（サービス）」への大きな変化が既に現れている。

データ駆動型ヘルスケアの中で様々なデータが取得され、健康管理から疾患管理、疾患治療（予防・先制医療）へと進むデータドリブンの研究の中で、多様な成果や価値が創出されることが期待される。革新的新薬に到達する研究は疾患の因果解明が伴う深い研究段階であり、その前段階として疾患に影響する因子や疾患関連性を示すデータなど多くの知見が集積される。このような情報や発見もデータ駆動型医療・ヘルスケアに貢献できる新しい価値としてフィードバックが期待されている。データエコシステムの中で、デジタルヘルスやデジタルセラピューティクスなども含めたより幅広い多様な成果を求める戦略への変更も考慮する必要があるかもしれない。

データの流れから見たヘルスケアデータエコシステム

目指すところは種々のプラットフォーム（あるいはデータエコシステム）を集めて、幅広い多様なデータの活用と、健康や経済や社会、国民満足度といった視点で大きな成果を得る仕組みをターゲットとすることである。

ヘルスケア（医療を含む）のデータ循環において主役になるのは、デジタル化され幅広い解析と活用を行えるデータそのものである。データの重要な要素を整理してみると図表２のようになる。①データの多様性と連結、②データの継続性、③データの質の確保（目的に応じたデータの質、標準化・構造化・クレンジング、時系列アウトカムの把握、等）、④データのアクセシビリティ（利用者、提供者がともにアクセスできる環境が必要。データのセキュリティや倫理性などの対応も含む）、それに付け加えて⑤データ提供者への解析結果や成果の還元がスムーズに実施されること（価

図表２　Healthcareのデータ循環（エコシステム）において考慮すべき「データの要素」

✓「データの多様性と連結」【データの種類の観点】
新たな知見を見出すには、医療情報に加え、ゲノム、オミックス、行動・生活情報等
あらゆる情報の生成・蓄積と統合が必要

✓「データの継続性」の確保【時間軸の観点】
発症前の生体兆候を把握し、疾病との関係を明らかにするには、個人を軸とした
長期にわたる「ライフコースヘルスデータ」の収集と連結が必要

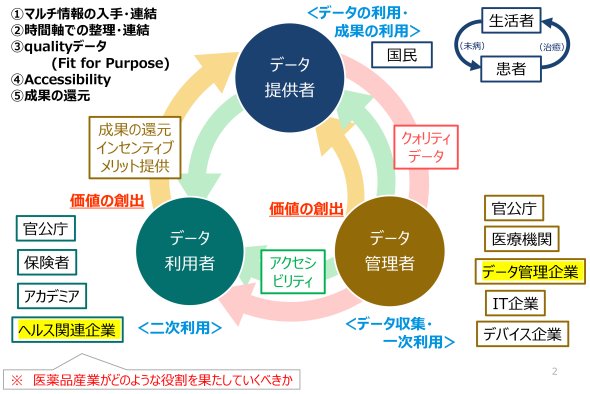
✓ 目的に応じた「データの質」の確保
データから意味のある結果を正しく導くには、利用目的に応じ**データの適正な質を確保しておくことが必要。**標準化、構造化、時系列アウトカムの把握、クレンジングetc.

✓「データアクセシビリティ」の向上
データ提供者が負担や不安、デメリットを感じないかたちで、データ利用者が
情報の2次活用ができる環境が必要。個情法、次世代医療基盤法etc.

✓ フィードバック環境の整備
データ利用者が解析結果やソリューションを速やかに、効果的に、正しく
データ提供者にフィードバックすることが、**データエコシステムの整備につながる。**

これらが成立したうえで、それがサイクルとして回ることが重要

図表３　医療健康に関するデータ活用のエコシステム



値の創出と社会還元）。以上の５つの要素が満足できることで、データ循環の仕組みが成り立ち、データがサイクルとして廻ることでデータエコシステムの形成が担保できる。

データ流通・活用については、多種のステークホルダー（プレイヤー）が存続するが、概念を短絡化するために単純なモデルで考えてみよう。データ提供者（データの利用や成果の利用をする立場）、データ管理者（データを収集し、一次利用をする立場）、データ利用者（２次利用をし広く成果を創出する立場）で、データ活用のエコシステムの中での関係性を見たものが、図表３である。

「データの提供者」は一般に患者や生活者である。つまり、国民全体がデータ提供者となる可能性を持っている。「データ管理者」はこれらのデータを収集して、１次活用しようとするところである。多くの場合医療機関であり、国や保険者といった公的機関であり、PHR（Personal Health Record）の収集では企業や民間事業者といったところとなる。そして収集されたヘルスケアの情報が、公的機関やアカデミア、民間ヘルス関係企業などの「データ利用者」に流れることによって、マルチ解析が行われ、データから新たな価値が創出される。その成果が広くデータ提供者や社会に還元される。その為の各プレーヤーをつなぐ源泉が「クオリティ（質を確保された）データ」であり、「データアクセシビリティの確立」であり、創出された「新しい価値（成果物）のフィードバック」の流れである。

具体的にどうやってこの流れを築くのかがまさにヘルスケア分野のデータエコシステム構築の論点である。ここではその論点の詳細には入らないが、マクロの視点で、次世代ヘルスケアを支える「データエコシステム」達成のキーは、特にデジタルデータの活用と得られた成果の社会還元にあることは明らかである。全体のマネージメントとフローが円滑に廻るようなアーキテクチャーをいかに整備していくかというアプローチが重要で、政府・行政に委ねざるを得ない部分が多い。このアプローチはまさしく Digital Transformation in Healthcare の実現を可能とする環境を目指す活動でもある。（図表４）

日本のヘルスケア分野のデータエコシステム構築についての論点

未来投資戦略の中で、Society5.0やデータ駆動型社会への変革について国を挙げた議論がなされ、

図表４　データ駆動型の医療健康エコシステム

◆次世代エコシステム　＝　Digital Transformation　の実現
社会レベルで、医療・健康・行動・生活などのあらゆる情報がタイムリーに収集、活用されて、新しい価値を創出し、広く社会に還元されることにより
デジタルによる「データ駆動型の医療健康＋α(付加価値)」が進展。

◆狭義(当面の目標)には
「医療健康」の情報が Fit for Purpose で収集され、そのデータの
1次、2次活用の環境が整うことで、大きな改善や新たな価値が創出
⇒　その情報や付加価値が提供者や社会に還元
⇒　全てのステークホルダーのシステム参入や関与が自律的に向上
この循環(エコシステム)が進展していく状態。

◆喫緊の課題としての「医療健康データ」の活用を進めるには
①データが集積するインセンティブ、②コストを上回るマネタイズの仕組み、
③データ活用から得られる価値を増大する仕組み（2次活用環境）、
といったシステム(技術)とアーキテクチャーの取り組みが必要。
④当初のイニシャル段階には、プラットフォーム化に先行投資が不可欠。

その重要分野としてヘルスケア分野の取組みも取り上げられ、KPIや課題、施策がまとめられているところではあるが、どのようなデータエコシステムを構築していくのかといったマクロ的視点で具体的なロードマップが示されているかというと、そのアプローチは必ずしも明確ではない。

この分野のデータ収集・活用という視点から特に4つの論点についてコメントしたい。

⑴ PHRとして多様なデータの連携ができるプラットフォーム構築

PeOPLe[8]の議論があったが、PHR（Personal Health Record）の視点でデータ集積の要となるプラットフォームを構築することが重要である。将来的にPHRの重要性が高くなることは研究会報告書の中でも述べている[9]。ここでは、PHRについて詳細を記載するのは避けるが、Precision Healthcare/Medicineに向けて大きなパラダイムシフトの進行が見えている中で、ライフコースヘルスデータの解析ができるプラットフォームが期待されている。ゲノムデータも、診療データもPHRの一部ととらえる発想が必要であり、その上で「個人を軸としたデータ流通のプラットフォームやPHRの活用ができるデータエコシステム」の構築が期待される。

⑵ 現場活用を優先した医療情報の収集プラットフォーム構築（現場ファースト）

一方で、現時点でヘルスケア分野のデータ活用を考えた時、個人の疾患履歴やカルテ情報などの医療情報の重要性は否めない。医療現場での活用ファーストの体制構築が2つ目の論点である。医療情報を中心として病因や疾患発症プロセスが明快になることが全体のパラダイムシフトのキーになることは異論をはさまない。次世代医療基盤法のこれから運用論議でも精度の高い病院情報の集積・活用が焦点であるが、医療現場や患者本人が活用でき、データ駆動型医療に対するインセンティブが明確でなければ、そもそも精度の高いデータ集積は難しい。長年医療情報の標準化や構造化の議論等、現場での活用を進めることが取り組まれてきたが、例えば、AI支援カルテシステム、LHS[10]による医療改善など、現場のメリットが見え、実効性のあるシステム構築が望まれる。

⑶ データ駆動型社会、Society5.0を進めるアーキテクチャーの実践

次がイノベーションを進めることに効果的な国のアーキテクチャーの推進ということである。データエコシステムを廻わしていくアプローチでは、技術・システムの革新的な進展がみられる中で、イノベーションとアーキテクチャー（法制度や社会システムの整備・設計）の調和が重要で、加えてビジネスマインドが欠かせない要素であることはかねてより指摘があるとおりである。公的な仕組みであっても、マネタイズを考慮した制度設計が必要である。また社会制度が大きく変わることを前提に議論が必要である。特に個人情報保護とデータ活用のハーモナイズを明確にしていかなければならない。さらに医療とヘルスケアの境界が無くなりつつあるといった社会変革もアーキテクチャーに反映する必要がある。

⑷ データを改善、拡大するプラットフォームの幅広い構築・受け入れ

更に医療実装の中でデータ活用を進める際にプラットフォームのインフラ構築がネックになっている状況（例えば電子カルテの普及、EHR（Electronic Health Record）システムの構築[11]など）から、データエコシステムに繋がるデータ収集や活用が顕在化されていない。一方でGAFAに代表されるプラットフォーマーの台頭にどのように対処するかという問題もある。データ駆動型医療・ヘルスケアへの移行というパラダイムシフトの動き

8）PeOPLe（Person centered Open PLatform for wellbeing）：「保健医療分野におけるICT活用推進協議会」が提言した「患者国民を中心とした保健医療情報基盤」

9）医薬産業政策研究所 「医療健康分野のビッグデータ活用研究会報告書 Vol.4」（2019年5月）（PHR活用をメインテーマにしている）、政策研ニュースNo.58（2019年11月）「PHRの標準化に向けて」

10）LHS（Learning Healthcare System）：政策研ニュースNo.46（2015年11月）「Learning Healthcare System ―実臨床データによる医療の検証・改善―」

11）政策研ニュースNo.49（2016年11月）「Electronic Health Record ―医療ビッグデータの多角的利用に向けて―」

を考えると、新設プラットフォームのイニシャル段階からビジネス的なメリットが得られることは難しく、データを集積し、システムのスムーズな運用に至るまでの期間は先行投資的なアプローチとなる。公益性の観点で更に国の関与も必要である。海外大手プラットフォーマーの既存の提供サービスも活用しつつ、日本独自のプラットフォームを連携させる構想が必要ではないだろうか。重要なのは日本で生成されるデータの活用である。将来的な価値の創出効果やグローバルなリーダーシップが取れる効果なども踏まえ、国家的取り組みが待たれる。

日本のヘルスケア分野でどのようなデータエコシステムを構築していくのか。具体的なアーキテクチャーを含めた議論が必要である。このレポートではエコシステムについて、ビジネス的な概念も踏まえ整理をし、データ流通の面からデータエコシステムの論点について考えてみた。また、マクロ的に筆者が注目している４点の論点についてコメントしているが、これからも研究会の報告書などで論点を深めていきたいと思う。

Topics

ヘルスケアサービスへのアクセスに関する国内民間医療保険の新動向

医薬産業政策研究所　主任研究員　枡田竜育

はじめに

我が国における公的医療保障制度と民間医療保険の関係、あるいは民間医療保険が公的医療保障制度との関係で果たしうる役割についての研究は、特に医薬品産業においては公然とは行われてこなかった。このことは、笠木が述べている通り、私保険の役割を議論することはその前提として社会保障制度の後退を容認してしまうことになるという考慮が影響しているかもしれない[1)]。保険医療の給付範囲のあり方についての議論は、我が国の社会保障の目的あるいは基本的人権といった根源的なテーマとも密接に関わり[2)]、民間医療保険の役割について安易な結論を導くべきではないことは言うまでもない。しかし、医療の給付と負担に関する議論の必要性について政府や日本医師会が明確な言及[3)]を行っている中、我が国の医薬品産業にも重大な影響を与える可能性があり、給付と負担の議論が波及する事項についての調査研究を行うことが必要になってきたと言えよう。本稿は、このような認識に立って、我が国において医療分野における民間医療保険の機能についての先行研究を俯瞰し、民間医療保険の最近の動向を分析する。

1．我が国の民間医療保険の役割についての先行研究

我が国の医療保障制度における民間医療保険の役割については、幾つかの先行研究があり、一定の結論が得られている[4)]。以下、先行研究を概説する。

まずは公的医療保障制度ならびに民間医療保険の用語の定義であるが、主たる財源に着目したOECDによる定義[5)]が一般的である。すなわち公的医療保障制度の定義は、「主たる財源が税あるいは所得比例保険料（税）である場合」であり、民間医療保険については、「主たる財源が私的保険の保険料である場合」ということになる。この定義の考え方に基づくと、民間医療保険の役割は、公的医療保障制度の有無と民間医療保険の保障範囲に応じて、下表の５つに分けられる。

1）笠木映里「社会保障と私保険」有斐閣2012（以降、“笠木（2012）”と記す）

2）これに関し、菊池馨実氏は著書「社会保障再考 〈地域〉で支える」（2019、岩波新書）の中で、「社会保障の目的は国民の生活保障にあるという通説的な見解を否定するものではない」とした上で、「より根源的には、個人の自律（autonomy）の支援と自立（independence）の支援が、社会保障の目的であると考えている」としている。これは、例えば予防とりわけ「一次予防」（生活習慣を改善して健康を増進し、生活習慣病等を予防すること）の社会保障における位置づけとも密接に関わる重要な指摘であると考える。

3）政府は、「経済財政運営と改革の基本方針 2019（骨太方針2019）」の中で、「医療についても2020年度の「経済財政運営と改革の基本方針」において、給付と負担の在り方を含め社会保障の総合的かつ重点的に取り組むべき政策を取りまとめる」としている。また日本医師会は、会長の令和二年年頭所感において「政府は人生100年時代に向けて全世代型社会保障への改革を進め、子どもからお年寄りまで、切れ目のない社会保障の構築を目指しておりますが、そのためには、現在の医療を分かりやすく国民に示し、納得の得られる給付と負担に関する国民的合意へと導いていく必要があります」としている。

4）和久津尚彦「医療イノベーションの推進と医療保険財政の健全化に向けた民間医療保険の役割に関するシミュレーションによる経済分析」『生命保険論集』第198号（2017年）（以降、“和久津（2017）”と記す）

5）OECD “PROPOSAL FOR A TAXONOMY OF HEALTH INSURANCE”, OECD Health Project, June 2004 https://www.oecd.org/health/health-systems/31916207.pdf（Accessed on Feb.2020）

表１　民間医療保険の役割

		公的医療保障制度	
		あり	なし
民間医療保険の保障範囲	公的医療保障	重複的機能 Duplicate	第一義的機能 Primary ・代替的機能 Substitute ・中心的機能 Principal
	公的医療保障の自己負担分	補完的機能 Complementary	
	公的医療保障に含まれない上乗せの医療	補足的機能 Supplementary	

（出典）OECD "PROPOSAL FOR A TAXONOMY OF HEALTH INSURANCE", OECD Health Project, June 2004を筆者訳。
（参考）田近栄治・菊池潤「医療保障における政府と民間保険の役割：理論フレームと各国の事例」『フィナンシャル・レビュー』平成24年第４号（通巻第111号）2012年９月

民間医療保険が公的医療保障制度と同様な範囲を保障する場合は重複的機能（Duplicate）を果たしている位置づけとなる。公的医療保障制度の自己負担部分を保障する場合は補完的機能（Complementary）、公的医療保障の保障範囲に含まれない上乗せサービスを保障する場合は補足的機能（Supplementary）を果たしている位置づけとなる。なお、公的医療保障制度がない場合は、民間医療保険は中心的機能（Principal）との位置づけとなり、公的医療保障制度を利用できない場合は、代替的機能（Substitute）の位置づけとなる。これらはいずれも民間医療保険が第一義的機能（Primary）を果たす位置づけとなる。

我が国の民間医療保険の市場は、米国はもとより欧州諸国と比較しても小規模である。この理由について笠木（2012）は、日本の社会保障制度の構造・制度設計にあるとし、具体的には、①日本の公的医療保険の給付は比較的広い範囲に及んでおり、これまで、必要性と適切性が認められる医療行為・医薬品は原則として公的医療保険によってカバーすることがめざされてきた、②原則として混合診療が禁止されており、自由診療の利用はきわめて狭い範囲に限定されている、③医師の報酬や医薬品の価格など、いわば医療の値段ともいえるものが全て立法行政によって一律に決定され、この価格を超えて患者に費用が請求されることが原則として想定されていない、④一部負担金が一定額を超えた場合については、別の金銭給付が支払われる等（高額療養費制度）、負担が高額とならないような手当てがなされていること、を挙げている。この分析には異論はない。我が国の民間医療保険を扱う保険会社が、医療機関による個々の医療行為について独自の医療的判断による審査機能を有していない、あるいは、有してこなかったことも一因ではないかと考える。

我が国では、保険業は内閣総理大臣より生命保険業免許あるいは損害保険業免許のいずれかの免許を受けて行うこととなっているが、いわゆる医療保険やがん保険は保険業法上「第三分野」と位置付けられており、いずれの免許でも保険の引受けを行うことができる[6]。保険商品は保険金の支払い方法によって、定額払いと実損払いに大別できるが、第三分野保険商品は定額払いが基本となっている。具体的には、がんや疾病による入院や手術への給付金、がんの診断やがんによる通院への給付などが定額で行われる商品が一般的である。また、特約としての三大疾病特約（がん・心疾患・脳血管疾患）先進医療特約なども定額給付が一般的である[7]。つまり、我が国の民間医療保険は、「定額払いによる公的医療保障制度の補完的機能（Complementary）」を主としている。

このような我が国の状況にあって、公的医療保障制度における民間医療保険の役割についての先行研究の結論は以下のように集約できると思われる。まず、民間医療保険による公的医療保障制度の代替的機能（Substitute）や補足的機能（Supplementary）については慎重な意見が多く、補完的機能（Complementary）の強化を検討すべきとの主張が主流である。次に、機能強化に伴って、給付の方法も実損補填型に切り替え、実際に生じた医療費に応じて給付を行うべきとの合意である。また、民間医療保険の活用を進める場合には政府の適切な関与が必要であるとの点である[8]。

6）保険業法第三条
7）2020年現在、損害保険会社で損失補填型の保険商品の引受けを行っている事例もある。
8）田近栄治・尾形裕也「次世代型医療制度改革」ミネルヴァ書房2009、和久津2017

保険とは、現代の社会における多様なリスクにともなって発生する経済的負担を加入者の間で分散するシステムであり、その性質上、経済的弱者の保護、一定量の加入者の確保といったシステムの維持のために「公」の役割が必要となる場合がある。したがって、その分類においても、一つには「法律等による加入の強制」や「加入時の被保険者による保険者の選択可能性」など、公共性に配慮した契約面からの公保険／私保険の区分が考えられ、他方、保険の運営主体の帰属による、官営／民営の区分がある[9]。公的医療保障のあり方や民間医療保険の役割を考えていく際には、高齢化の進行や医療技術の進歩によって増大する医療費を前に、医療保険市場に生じる様々な失敗の是正も視野において、公私、官民の役割を考えていくことも必要となる[10]。この中で保険医療の給付範囲のあり方は欠くべからざる論点となるものと考える。

２．国内民間医療保険の新しい商品類型

さて、先述の通り、我が国の民間医療保険の類型は、「定額払いによる公的医療保障制度の補完的機能（Complementary）」が主である。しかし、欧米あるいは中国でインシュアテック[11]を応用した保険商品が進展する中、我が国においても新しい民間医療保険商品が開発されはじめている。以下では、近年我が国で発売された民間医療保険商品のうち新しい考え方が具体化されていると考えられる商品を示す。

１）いわゆる健康増進型保険

健康診断の結果の変動あるいは健康診断の受診、歩行などの健康増進に関する行動に応じて、保険料が増減したり、保険料の還付が行われたりするいわゆる健康増進型保険商品が、国内においても、開発・発売されている。これらの商品は、機能として加入者が健康を保持増進するための行動への動機づけを保険料支払いと関連付けて保険商品を設計している点が新しいと考えられる。呉らも「近年の（生命保険会社；筆者補）各社のヘルスケアビジネスへの取り組み強化は、『万が一のリスクに対する備え』という従来の保険の価値提供から『心身共に健康でありたい』『充実した人生を送りたい（QOL の向上）』という顧客のより本質的な欲求を満たすための価値提供への取り組みと捉えられる」と指摘[12]している。また、これらの中には、ヘルスケア分野の商品・ソリューションを組み込んで商品の全体像を設計している保険商品もある。このことは、ヘルスケア分野における商品・サービスあるいはソリューションを提供するプロバイダにとって注目に値すると考える。ヘルスケア分野において薬機法の承認等を経ない商品・サービスが数多く存在する中、民間医療保険が保険商品のサービスとして組み込むことは、消費者の商品･サービスの選択の一助となりうる。いわば民間保険会社がヘルスケア分野の商品・サービスについて“お墨付き”を付与しうるという可能性も否定はできない。

例えば、住友生命相互保険会社が発売する「Vitality」は、2018年７月の発売から累計35万件にのぼり、健康増進の拡がりとして、顧客の意識の変化、行動の変化、健康状態の変化についての結果が公開されている[13]。

９）田近栄治・尾形裕也「次世代型医療制度改革」ミネルヴァ書房2009

10）ただし、誰のための社会保障か、何のための社会保障かとの問いについての議論や、公的保険の給付範囲のあり方についての議論こそが、民間医療保険の役割を論じる前に行うべき、大変重要な議論であると考える。

11）InsurTech。吉澤は「新しい情報通信技術を活用した保険業の革新であると端的な説明を加え、以下９種類にInsurTech応用を分類している。日本は出遅れているとしている。①比較サイト、②デジタルブローカー（保険仲介）、③保険のクロスセル、④P2P保険、⑤オンデマンド保険、⑥デジタル保険者、⑦ビッグデータ解析および保険ソフトウェア、⑧保険会社Internet-Of-Thing（IoT）、⑨ブロックチェーン及びスマートコントラクト、吉澤卓哉「インシュアテックと保険法」『産大法学』53巻２号2019年７月

12）呉怜美・濱崎豊「生命保険会社によるヘルスケアビジネスの展望～顧客の QOL を高めるリビングサービスの実現に向けて～」、Accenture2018、https://financialservicesblog.accenture.com/japan/enhancing-customer-quality-of-life-with-living-services-in-insurance?lang=ja_JP（Accessed on Feb.2020）

13）住友生命保険相互会社「2019年度上半期業績説明用資料」、http://www.sumitomolife.co.jp/about/company/ir/settlement/pdf/191122.pdf（Accessed on Feb.2020）．なお、Vitalityについての説明は、数多くなされているが、筆者も政策研ニュース No55『次世代の予防医療へのアクセスについて』（2018年11月）にて概説している。

表２　国内で販売されている主な健康増進型保険
（各社 HP より筆者作成、2020年２月現在）

商品名	保険会社名	特典などの類型	健康増進にかかる概要	関連するデバイス
Vitality	住友生命保険相互会社	キャッシュバック 特典	健診や予防接種を受けるなどの規定の健康行動により、特典を受けたり次年度の保険料が変動	Apple Watch
アフラックの健康応援医療保険	アフラック生命保険株式会社	キャッシュバック	健康年齢が実年齢未満の場合、保険料の一部を還付	
あるく保険	東京海上日動あんしん生命保険株式会社	キャッシュバック	日平均の達成状況に応じて還付金	活動量計の貸与、スマートフォンへのアプリダウンロード
からだプラス カラダ革命	ネオファースト生命保険株式会社	保険料変動	健康年齢が若くなれば保険料が下がる	
じぶんと家族のお守り	SOMPO ひまわり生命保険株式会社	保険料変動 キャッシュバック	健康状態や健康行動に応じて保険料率が変動 加えて健康チャレンジ祝金を支給	
ジャスト 健康診断割引特約	第一生命保険株式会社	保険料割引	健康診断書等を提出することで、保険料が割引 健康状態によっては、さらに保険料が割引	
ネオ de 健康エール	ネオファースト生命保険株式会社	保険料変動	健康年齢が若くなれば保険料が下がる	
ベストスタイル 健康キャッシュバック	明治安田生命保険相互会社	キャッシュバック	健康診断の結果の提出で、毎年「健康サポート・キャッシュバック」を受け取る	
糖尿病の方の医療保険ブルー	SOMPO ひまわり生命保険株式会社	キャッシュバック	HbA1c 値の改善により保険料の一部を還付	血糖値管理アプリなどの重症化予防の応援サービス

２）いわゆる Peer-To-Peer 保険

2020年１月28日、保険スタートアップの株式会社justInCaseが、国内で初めてのPeer-To-Peer保険（以下、P2P 保険）である「わりかん保険」を発売したことを新聞各紙が報じた[14]。この「わりかん保険」は、「P2P型保険」として、新技術等実証制度（規制のサンドボックス制度）の認定[15]を受けている。この中では「P2P 型保険は、実際に支払われた保険金総額を契約者数で除したものをベースとして、保険料を事後的に徴収するもの」と説明[16]が付されている。一般的に P2P 保険は、インシュアテックの典型的な応用例であり、シェアリングエコノミーを保険に適用したものなどと説明される。すなわち友人やSNS[17]を介するなどして、特定のリスクに興味がある集団が保険加入者となり、リスクをシェアする。保険料は事故発生後に保険加入者で負担する。保険者の役割の一部を保険加入者相互のつながりが担うため、保険事業の運営コストが引き下がり、相対的に安価な保険料での保障が可能となる。このようにP2P保険は、インシュアテックやSNSを応用し、事業をインターネット上で完結して、コストを引き下げた新しい保険[18]である。「わりかん保険」は、オンライン申し込み専用の保険商品で、20歳から74歳

14）「日本初「P2P 保険（わりかん保険）」をパートナー企業８社にて１月28日から順次取扱開始」、株式会社 justInCase ニュースリリース、2020年１月28日、https://justincase.jp/news/20200128_p2pinsurance/、「保険金の支払い「割り勘」 国内初 P2P、負担透明に」日本経済新聞、2020年１月28日、https://www.nikkei.com/article/DGXMZO54936040Y0A120C2EE9000/（Accessed on Feb.2020）

15）認定日2019年７月５日、規制所管は金融庁。新技術等実証の実施期間は、2019年度下半期の保険商品販売開始から１年間となっている。「認定新技術等実証計画の内容の公表」、https://www.fsa.go.jp/news/30/20190705/01.pdf（Accessed on Feb.2020）

16）「認定新技術等実証計画の内容の公表」、https://www.fsa.go.jp/news/30/20190705/01.pdf（Accessed on Feb.2020）

17）Social Network Service

18）吉澤は「P2P保険とは、保険者の役割を果たす者がいない相互救済制度（あるいは、そうした相互救済制度を組み込んだ保険）であって、新しい情報通信技術を活用しているもののことである。」と説明している。吉澤卓哉「インシュアテックと保険法」『産大法学』53巻２号2019年７月

で、がん（悪性新生物、上皮内がん）と診察されたり、がんで入院したり、がんで手術を受けたりしたことがない場合に加入し被保険者となることができる可能性がある。保険期間は１年間（更新可）で定額のがん診断一時金が保障される[19]。

わりかん保険のようなP2P保険は国外では既に販売事例があり、有名な商品の一つが、中国で阿里巴巴（アリババ）グループが販売する「相互宝」（シャン・フ・バオ）である。

「相互宝」は、保険商品ではなく、保険に酷似した「インターネット互助プラン」との位置づけとなる。「相互宝」は、がんや悪性腫瘍など約100種類の重大疾病を保障範囲とし、罹患した際には所定の給付金が支給される。18歳から59歳未満で信用評価システム「芝麻信用」のスコアが一定以上でアリババが展開する決済アプリ「支付宝（ALIPAY；アリペイ）」の会員が加入できる。いわばアリババグループによる「支付宝」のプラットフォームのサービスと捉えることができる。加入時に保険料に相当する保障コストがかからず、将来時点で発生する給付の多寡に応じて後払いをする仕組みであり、その保障コストは会員で均等に負担し、一般的な民間保険商品と比べても破格の安さとされている。「相互宝」の加入者数は増加しており、2019年４月時点で5,000万人超、2019年12月には１億人超に達したとされている[20]。片山は、会員のうち、３割が農村部の居住者、５割が都市で暮らす出稼労働者と、農村出身者が多くを占めている、とし、「所得が相対的に高いとは言えない彼らが、治療費の高いがんや重大疾病に罹ったとしても、経済的な理由で治療をあきらめなくてすむ、という選択肢を与えた意義は大きい」と指摘している[21]。

中国では、E-Commerce「京東」や保険会社「平安保険」と同様に「支付宝」も、診察の予約、受診、支払い、処方箋の入手と医薬品の受け取りといった医療の各段階でのサービスをプラットフォームに組み込んでビジネス化している。ヘルスケア分野における商品やサービスをプラットフォームにいかに組み込んでいくかを考えるとP2P保険のような新しい医療保険商品の動向も注視が必要と考える。

このように国内においても健康増進型保険やP2P保険のような新しい医療保険商品の開発が進められている。この動きの中では、民間保険会社が被保険者、消費者とより密接な関係性を構築しうる点を指摘しておく必要があろう。健康増進型保険では、被保険者の健康に関わる各種情報がデータとして保険会社に蓄積されていくことになる。またP2P保険では、被保険者がSNSを介するなどして相互に関係性を構築しうる。Interactiveな要素が保険商品に付加されているなど従来商品とは一線を画すと考えられる。

おわりに

以上、本稿では国内において民間医療保険が公的医療保障制度との関係で果たしうる役割に関し、先行研究を俯瞰し、新しいと考えられる民間保険商品の類型を示した。我が国の民間医療保険は、必要性と適切性が認められる医療行為・医薬品は原則として公的保険によってカバーするとの考えに基づく公的医療保険の広い給付範囲の外側で、発展してきた。もし、国内民間医療保険に公的医療保障制度との関係で果たしうるさらなる役割を求めていくとすれば、公的保険の給付範囲のあり方についての国民的議論を行っていく必要があるだろう。

一方で、健康増進型保険やP2P保険といった新

19）株式会社 justInCase ホームページ、https://p2p-cancer.justincase.jp/（Accessed on Feb.2020）
20）片山ゆき「アリババが医療保障を変える？ －次なる「相互宝」の投入」、ニッセイ基礎研レター2019-05-20、https://www.nli-research.co.jp/report/detail/id=61976?site=nli（Accessed on Feb.2020）および、楊晶晶「急拡大するアリペイの新互助プラン」、Financial Information Technology Focus 2019.7、http://fis.nri.co.jp/~/media/Files/publication/kinyu-itf/2019/07/itf_201907_7.pdf（Accessed on Feb.2020）および、https://www.afpbb.com/articles/-/3257244（Accessed on Feb.2020）
21）片山ゆき「アリババが医療保障を変える？ －次なる「相互宝」の投入」、ニッセイ基礎研レター2019-05-20、https://www.nli-research.co.jp/report/detail/id=61976?site=nli

しい保険商品が各種規制を所与として開発されている。これらの保険商品[22]は、製薬企業がBeyond-The-Pill[23]などとして事業展開する非･医療用医薬品事業の進展に特に密接にかかわってくる可能性がある。民間保険会社にとっても、近未来のビジネスモデルや保険商品を確立していくことは重要であるが、その一類型として「アップロードし続ける最先端医療等と関連ヘルスケアサービスの有利な条件（優先アクセス機会、料金、情報コスト等）での提供（従来は定額の保険金）」[24]を謳う識者もある。本項で例示したような新しい民間医療保険商品が各種の健康情報をinteractiveに活用してヘルスケアの分野での新しい役割を模索していくことは、医薬品産業にとっても注視すべき動向と考える。これからのヘルスケアサービス（医療や医薬品も広義にサービスに含めて）へ国民・患者のアクセスを如何に確保していくかを検討していく中では、民間医療保険を活用する観点も含めて、関係者が従来の業種や立場を超えて議論や工夫を行っていく必要があるだろう。

22）住友生命グループのメディケア生命が、2019年５月より薬剤治療保険を販売している。健康増進型保険やP2P保険にあたらないことから本稿では詳細に触れなかったが、新しい類型の医療保険商品である。商品名「メディフィット EX」
23）Beyond-The-Pill については、拙稿「Beyond-The-Pill に関する我が国の現状の制度概要」、2019、政策研ニュース No.58
24）田中隆「X-Tech の影響下における生命保険（事業）とその可能性」『生命保険論集』第208号別冊、2019

政策研だより

主な活動状況（2019年11月～2020年2月）

11月	1日	政策研ニュース No.58発行	
	8日	講演	「未来ヘルスケアへの準備　－データ駆動型研究を進めていくための方策－」 医薬産業政策研究所　統括研究員　森田正実 （医療科学研究所 産官学少人数懇談会）
	12日	講義	「医療健康分野のビッグデータの活用　－医療･ヘルスケアのパラダイムシフトと製薬産業の課題・方策－」 医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之 （北里大学大学院 薬学研究科『医薬開発学特論Ⅱ』講義）
	15日	講演	「Recent advances in digital technology and future of “data-driven healthcare”」 医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之 （REACTA Forum 2019）
12月	5日	講義	「医薬品産業におけるイノベーション」 医薬産業政策研究所　主任研究員　佐々木隆之 （成城大学『政策イノベーション特殊講義』）

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所
OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research

政策研ニュース
2020年３月発行

〒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７階

TEL　03-5200-2681
FAX　03-5200-2684
MAIL　opir-sp@jpma.or.jp

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

無断転載を禁ずる