医薬産業政策研究所

No.62

OPIR Views and Actions

2021年3月

目次

Topics

新薬の比較薬に対する価格プレミアム:日米欧のマッチト・サンプルによる分析

医薬産業政策研究所 客員研究員、学習院大学教授 西村 淳一

医薬産業政策研究所 所長、東京経済大学教授 長岡 貞男……1

公的医療保険の給付のあり方の論点

医薬産業政策研究所 主任研究員 枡田 竜育……10

一般生活者が考える薬の価値と受診等のあり方

- コロナ禍を踏まえた Web アンケート調査より -

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

研究員 廣實万里子

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学横浜市立大学医学群健康社会医学ユニット

客員准教授

准教授 五十嵐 中……15

Points of View

HTA 機関における意思決定要因の解析

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学

研究員 廣實万里子

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

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……21

医薬品開発パイプラインのモダリティと適応症に関する調査

医薬産業政策研究所 主任研究員 鍵井 英之……24

客員准教授

がんサバイバーにおける疾病との共生

医薬産業政策研究所 統括研究員 伊藤 稔……33

日常生活で取得されるデータの利活用について

~スマートシティにおける取り組み~

医薬産業政策研究所 主任研究員 中塚 靖彦……42

目で見る製薬産業

日米欧 NME 承認品目の創出企業の国籍

-2010~2019年の承認品目を中心に-

医薬産業政策研究所 主任研究員 澁口 朋之……50

日本で承認された新医薬品とその審査期間

-2020年承認実績と過去10年の動向調査-

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉田 昌生……57

国内主要製薬企業の海外売上高上位製商品の特徴

医薬産業政策研究所 主任研究員 中尾 朗……70

政策研だより

主な活動状況 (2020年11月~2021年2月)、レポート・論文紹介 (2020年11月~) ………79



新薬の比較薬に対する価格プレミアム: 日米欧のマッチト・サンプルによる分析1)

医薬産業政策研究所 客員研究員、学習院大学教授 西村淳一 医薬産業政策研究所 所長、東京経済大学教授 長岡貞男

創薬イノベーションへのインセンティブにおい て、薬価制度は中核的な役割を果たす。革新性が 高い新薬は、既存の比較薬に対する価格差が大き く、より高い収益が得られると予想され、その結 果、革新的な医薬品を生み出す不確実でコストの 高い研究開発への取り組みが促される。新薬の比 較薬に対する価格プレミアムの国際的比較研究 は、新薬の既存比較薬に対する付加価値を各国の 薬価制度でどの程度評価しているかについて具体 的エビデンスを提供し、創薬イノベーションを促 進する政策制度を分析する観点からも重要なデー タである。しかし、これによる国際的比較研究は ほとんど例が無い2)。

例外として、Comanor他(2018)の先行研究は、 NICE (National Institute for Health and Care Excellence) による医薬品の費用対効果と公的調 達機関が価格決定に大きな役割を果たしている英 国と、医薬品の効果の評価と価格交渉が民間機関 に委ねられている米国における新薬の既存比較薬 に対する価格プレミアム(新薬の比較薬に対する

価格上昇率)を比較し、米英の間では価格プレミ アムは平均的にみてほぼ等しく、英国の政府機関 による費用対効果に依る規制価格が米国の市場原 理による価格決定と大きく異なる結果をもたらし ていないと結論づけている3)。

本稿では、Comanor他(2018)の研究を、以下 の三つの点で拡張する。第一に、米国を基準国と して、日本、独、英、仏の4ヶ国をほぼ同じデー タセットで比較することで、米国市場における新 薬の価格プレミアムを、日欧各国の新薬の価格プ レミアムがどの程度反映しているかを計測する。 補論1に示すように、これによって各国市場で、 新薬の既存薬に対する医療上の効果が、新薬の価 格上昇率に、米国と比較してどの程度反映されて いるかを知ることができる。ただし、薬価の上昇 額は、このような価格上昇率の他に、価格水準自 体を決める要因(支払意思額等)にも依存するこ とに留意する必要がある。

第二に、Comanor他(2018)では、各国におけ る新薬の評価(薬価)がもっぱら費用対効果を反

¹⁾ 本稿の研究には医薬産業政策研究所の研究員各位から有益なコメントを頂いたことに感謝申し上げたい。本研究は、佐 藤一平氏との共同研究(医薬産業政策研究所リサーチペーパーNo.74「日米欧における薬価の構造とダイナミクス:革 新性の反映」) で構築したデータを更に発展させたものである。科研費基盤B (「創薬イノベーションとインセンティブ の研究」、18H00854) の支援を受けて実施した。

²⁾ 医薬産業政策研究所リサーチペーパーNo.74「日米欧における薬価の構造とダイナミクス:革新性の反映」において、米 国薬価を基準とした薬価水準の国際比較分析を行っている。しかし、新薬と比較薬との価格比である価格プレミアムを 考慮した分析は行っていない。

³⁾ Comanor他(2018)は米英30医薬品成分の上市時の初期価格プレミアムに限定した分析で、その主要な結果は以下の推 定結果である:ln (UK ratio) =0.292+0.988 ln (US ratio)。t 検定の結果、US ratioの係数値=1を棄却できない。こ の結果は、比較薬に対する新薬の(相対的な)費用対効果の評価は米英で同等であり、NICE が存在することで市場原 理による医薬品価格決定構造を大きく歪めないと解釈されている。しかし、本稿で示すように、新薬の比較薬に対する 価格の上昇幅は、このような価格プレミアムに加えて、比較薬の価格水準自体にも依存することに留意する必要がある。 Comanor, W.S., Schweitzer, S.O., Riddle, J.M., Schoenberg, F. 2018. "Value based pricing of pharmaceuticals in the US and UK: Does centralized cost effectiveness analysis matter?" Review of Industrial Organization 52, 589-602.

映していると仮定されているが、日本及び欧州で は、海外との新薬価格差も、直接あるいは間接に 重要な要因となっている可能性があり、その影響 を分析に取り入れる4)。補論1に示すように、比 較薬における基準国(米国)と当該国の価格差(対 数での差)を、説明変数として追加すれば、その 係数の推定値が各国におけるこの要因の重要性を 示す。本稿では、このようにして、新薬の価格プ レミアム決定における、米国との新薬の価格水準 の差の影響も分析する。

第三に、上市時点のみではなく、その後の動態 を把握するパネル・データの平均値で比較分析す る。価格の動態は各国で大きく異なり、初期価格 の分析のみでは、イノベーションへのインセンテ ィブの不十分な分析となってしまう可能性があ る。

データの構築

本稿では様々なデータソースを用いて分析デー タセットの構築を行った5)。構築手順は以下の通 りである。まず、我々が IQVIA 社からライセン スしている『Pricing Insights』には、日米独英仏 の5か国2010年7月~2019年3月における上市医 薬品について月次レベルで価格情報がある(ただ し、日本については価格情報が2010年は欠損値)。 『Pricing Insights』には流通の各段階での価格情 報が収載されているが、本稿では、各国における

実勢価格に最も近いと想定される薬局購入価格 (PPP) を用いて分析している⁶⁾。この基本データ ベースから、一般成分名、国際商品名、剤形及び 強度の全てを共通とする医薬品単位で各国の価格 情報をマッチングし、各国における四半期ベース で価格データを単純平均したデータベースを作成 した。この価格データについて、OECDより2015 年時点における各国 GDP デフレーターと購買力 平価の情報を入手し、2015年価格で実質化し、購 買力平価で換算したドルベースの価格データを作 成した。次に、IQVIA World Review Analyst 2018 の売上上位300の医薬品リストと日本の中医協の 薬価算定情報より特定した、その上位医薬品と対 応する比較薬のリストを作成し、『Pricing Insights』より構築したデータベースと接続作業を 行った。

最終的に、日本で上市され、比較薬価ベースで 新薬の薬価が決定され、かつ米国及び欧州(独、 英、仏) 3ヶ国のいずれかでも上市されている医 薬品69成分(類似薬効比較方式で算定された新薬 69成分それぞれに対応する比較薬のデータ)を抽 出した。加えて、これらの分析対象となる医薬品 は一般成分名、国際商品名、剤形及び強度全てに おいて各国共通の薬剤が存在することも条件とな っている。この中で、観測期間中に初期価格が存 在する医薬品は約30である。

さらに、新薬と既存比較薬との、治療単位での

⁴⁾ 日本では外国平均価格調整が海外との新薬価格差を日本における初期薬価に反映させる役割を果たしている。独、英、 仏の中で、英国では外国価格は明示的に考慮される仕組みは無いが、独、仏では外国価格は考慮される仕組みとなって いる (岩井, 2018; Maini and Pammolli, 2020)。欧州で外国価格が価格に反映されるメカニズムは複数あり得る。保険 償還における上限価格に、外国価格が反映されている場合、企業は外国価格を参考として申請価格を設定すると考えら れる。また、英国のように、企業に価格決定の自由度がある場合も、米国の市場価格は国内での価格決定の重要な参考 情報となると考えられる。

岩井一郎(2018).各国の薬価制度と日本への示唆.小黒一正・菅原琢磨(編)『薬価の経済学』日本経済新聞出版. p. 129-146.

Maini, L., Pammolli, F. 2020. "Reference pricing as a deterrent to entry: Evidence from the European pharmaceutical market" Available at SSRN: https://ssrn.com/abstract=3694471 or http://dx.doi.org/10.2139/ssrn.3694471

⁵⁾主に用いたデータソースは以下である。① IQVIA. Pricing Insights、②サンエイレポートの特許保護期間や再審査期間 情報、③中医協の薬価算定情報から構築した医薬産業政策研究所作成の薬価情報(加算率、外国平均価格調整率等)、④ OECD の GDP デフレーターと購買力平価情報、⑤ IQVIA World Review Analyst 2018の売上上位医薬品情報。

^{6)『}Pricing Insights』には主に以下の3つの価格情報がある。メーカー出荷価格(『Pricing Insights』における表記では MSP: Manufacturer Selling Price) であり、製薬会社から卸への販売価格である。次に、卸販売価格あるいは薬局購入 価格(PPP: Pharmacy Purchase Price)である。最後に、消費者価格あるいは税込薬局小売価格(RPP: Retail Public Price)である。『Pricing Insights』の価格情報の詳細については医薬産業政策研究所リサーチペーパーNo.74「日米欧に おける薬価の構造とダイナミクス:革新性の反映」を参照。米国の PPP は領収書ベースの価格を収集している MIDAS がデータ源である。

価格比を計算するために、本稿では中医協の薬価 算定資料から各医薬品の一日薬価の情報を用い て、各国における新薬の比較薬に対する価格プレ ミアム(価格比の対数値、新薬の比較薬に対する 価格上昇率)を測定した7)。

分析の基本モデル

Comanor他(2018)では、英国と米国それぞれ において、標準治療単位での新薬と既存比較薬と の (新薬の) 上市時点の価格比 (UK ratio と US ratio)を計算し、その対数値をとることで、単純 なクロスセクション回帰分析を行っている。本稿 でも同様に、一日処方量で換算した一日薬価で計 算される新薬の価格プレミアムを以下の通りに定 義した。

新薬の価格プレミアム = ln (新薬の一日薬価) ln (比較薬の一日薬価)

本稿では、Comanor他(2018)の回帰分析と同じ く、以下のモデル式(1)の推定をまず行った8)。

日欧各国の新薬の価格プレミアムi= 定数項 + β / β^* (米国の新薬の価格プレミアムi) + ϵi (1)

ここでiは医薬品成分、 β/β^* は推定パラメータ である。ここで関心のある係数値は β/β^* の値で あり、これは補論1に示すように、米国と比較し て日欧各国において、新薬の健康上の効果が高い ことが、その薬価の上昇率にどの程度反映される かを示している。この数値が1と等しい場合は、 その反映されている程度が米国と同等であること を意味する。1を上回る場合は、米国よりも反映 していることを意味し、1を下回る場合は、米国 よりも反映していないことを意味する。なお、(1)式 は Comanor 他 (2018) と同様にクロスセクショ

ン・データによる推定で、本稿では、各国におけ る新薬の上市時点の薬価を用いて、比較分析のた め日欧4か国にサンプルを分割して、それぞれ推

新薬の価格決定においては、新薬の比較薬に対 する相対的な費用対効果のみではなく、外国平均 価格調整や参照価格制度のように、海外との新薬 価格差も影響すると考えられる。そこで、本稿で は(1)式に、この要素を加えた以下のモデル式(2)の 推定を行った。

日欧各国の新薬の価格プレミアム i= 定数項+A (米国の新薬の価格プレミアム) $i+(1-\theta)$ ln (米 国の比較薬の一日薬価/日欧各国の比較薬の一日 薬価) $i-4+\varepsilon i$ (2)

補論1に示すように、比較薬における米国と日 欧各国の価格差(対数)を、説明変数として追加 すれば、その係数の推定値 $(1-\theta)$ が各国におけ る米国との価格差の重要性(日本の場合は外国平 均価格調整の利用確率)を示すことになり、新薬 の価格プレミアム決定における外国平均価格調整 等の影響の有意性も分析することができる。また、 (2)式のAは米国の新薬の価格プレミアムの係数値 であり、これは $\theta\beta/\beta^*+(1-\theta)$ に等しい。よっ T、 $(1-\theta)$ の係数値を得ることで、モデル式(2)に おける β/β^* の値を計算して求めることができる。 (2)式では日欧各国の比較薬の一日薬価が左辺と右 辺の第二項に入っており、潜在的な同時性の問題 を避けるため、右辺では1年前の比較薬の一日薬 価比の対数を利用している⁹⁾。

Comanor他 (2018) の分析データは上市時点の みのクロスセクション・データであったが、本稿 では医薬品69成分に関して2010年7月~2019年3 月までの四半期パネル・データを用いて、価格プ レミアムの動態を分析する。各国でこの動態は異

⁷⁾ Comanor 他 (2018) では、新薬と比較薬の Standard Course of Treatment から価格比を計算している。本稿では一日 薬価(一日処方量)から価格比を計算しており、本稿で計算される価格比は Comanor 他(2018)と基本的に同じよう に構築されていると考えられる。

⁸⁾ 各推定モデルの理論的背景については補論1を参照。

⁹⁾ 比較薬の薬価が完全に外生変数であれば、同一時点の説明変数でも、問題は発生しない。

なり、この分析は重要だと考えられる。例えば、 米国の場合、新薬の戦略的な価格設定として、浸 透価格戦略を行うケースもあり、市場に普及する にしたがって、徐々に新薬の価値が認識され、薬 価が上昇していく。このような新薬の価値に対す る評価の高まりを反映する仕組みは、日本には無 く、欧州でも限定的である。

パネル・データで推定するモデル式は以下であ る。

日欧各国の新薬の価格プレミアムit=定数項+ β / β^* (米国の新薬の価格プレミアム) $it + \varepsilon it$ (3-1)

日欧各国の新薬の価格プレミアム it = 定数項+A (米国の新薬の価格プレミアム) $it + (1 - \theta) \ln (*)$ 国の比較薬の一日薬価/日欧各国の比較薬の一日 薬価) $it - 4 + \varepsilon it$ (3-2)

式(3-1)は式(1)に、式(3-2)は式(2)に対応し、初 期値ではなく、パネル・データの平均値で、同じ モデルを推計した結果を示し、頑健チェックとも

言える。いずれもパネル・データより推定される が、本稿では固定効果推定は行っていない。新薬 の価格プレミアムは新薬と比較薬との価格比より 計算されるものであり、新薬と比較薬で共通する 固有効果(例えば、適応症や薬理作用、対象疾患 の需要や競争の状況等)は既に除去されている。

推定結果と分析

先のモデル式(1)~(3)にしたがって、最小二乗法 による推定を行った。主に関心がある係数値の推 定結果をまとめたのが以下の表である100。詳細は 補論2に示しているが、推定された係数値はいず れも統計的に強く有意であった。

まず、式(1)の推定結果についてみると、米国に おける新薬の価格プレミアムの係数β/β* につい ては、日欧4か国いずれも1より低い係数値とな っていた110。この結果から、日欧各国は新薬の比 較薬に対する健康上の効果 (=比較薬の効果と比 較した改善率)を、その薬価の上昇率に、米国ほ ど反映していないことを示す。さらに、 β/β^* の 係数値については、式(1)~(3)のいずれをみても、 独、英、仏、日本の順で大きく、日本は欧米と比

モデル式	解釈	推定值	日本	独	英	仏
式(1)	新薬の健康上の効果が薬価の上昇率に 反映される程度 (米国との比較)	β / β *	0.30	0.76	0.65	0.52
	1 - 新薬の価格プレミアム(新薬また は比較薬の薬価評価)のバラツキ	R自乗	0.32	0.56	0.48	0.19
	残差(ε)の標準誤差	εの標準誤差	0.24	0.29	0.28	0.43
	国内の制度の影響と外国平均価格調整 や参照価格等の影響の合算	A	0.36	0.78	0.72	0.54
式(2)	外国平均価格調整や参照価格等の海外 との新薬価格差の影響	1 – θ	0.13	0.27	0.19	0.36
	新薬の健康上の効果が薬価の上昇率に 反映される程度 (米国との比較)	β / β *	0.26	0.70	0.65	0.28
式(3)	新薬の健康上の効果が薬価の上昇率に 反映される程度 (米国との比較)	β/β*	0.24	0.66	0.51	0.34
	外国平均価格調整や参照価格等の海外 との新薬価格差の影響	$1-\theta$	0.33	0.25	0.28	0.47

表1 推定結果のまとめ

¹⁰⁾ 以下の図表では、中医協の薬価算定資料およびCopyright©2021 IQVIA. Pricing Insights およびIQVIA World Review Analyst 2018 をもとに作成 (無断転載禁止)

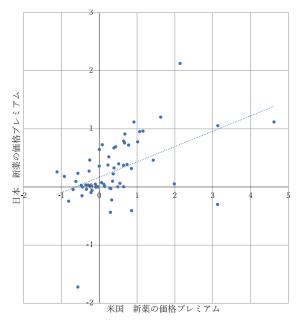
¹¹⁾ これらの係数値が1に等しいかどうかの検定も行ったが、いずれも帰無仮説は棄却されたため、1を下回ることがわかる。

較して、新薬の健康上の効果をその薬価の上昇率 に反映していないことがわかる。米国で30%の新 薬価格プレミアムがある場合、日本では9%、独 では23%、英国では20%の価格プレミアムがある。

次に、決定係数であるR自乗も記しているが、 式(1)が示すように、米国の価格評価の変動は共通 であり、当該国で β/β^* の係数値が大きいほど、ま た、新薬の付加効果の価格評価における当該国の バラツキが小さいほど、この値は大きい。日本と 仏では、独や英と比較して、R自乗が小さくなっ ていることは、β/β*の係数値が小さいことと価 格評価のバラツキが大きいことの二つの潜在的な 原因があるが、表1に示すように、日本ではもっ ぱら最初の要因が重要であり、仏では二つとも重 要である。すなわち、仏では日本より β/β^* が大 きいが、日本よりもR自乗は小さくなっており、 これは仏の方が価格評価のバラツキが大きいから である。

以上の結果は、図1と図2からもわかる。図1 は横軸に米国の価格プレミアムを、縦軸に日本の 価格プレミアムをとり、2019年1~3月時点の数 値で散布図を描いたものである。同様に、図2は 横軸に米国の価格プレミアムを、縦軸に独の価格 プレミアムをとったものである。推定された β/β^* の係数値から予測されるように、独の方が日本の

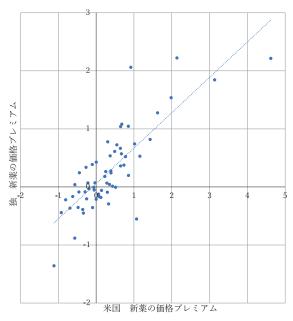
米国と日本の価格プレミアムの関係 図 1



場合と比べて傾向線(点線)の傾きが急であり、 45度線に近い。日本の傾向線の傾きが小さい一つ の原因は図1が示しているように、原点を通る水 平線上あるいはその近傍にかなりの数の医薬品が 分布しているからである。他方、傾向線からのバ ラツキは、日と独はほぼ同じ程度である。

次に、式(2)の結果から、比較薬における米国と 日欧各国の価格差(対数)の係数(1-θ)の推定 値が得られている。この係数値は、各国において 米国との価格差が価格プレミアムの決定における 重要性(日本においては外国平均価格調整が利用 される確率)を示しており、新薬の価格プレミア ム決定における同制度等の影響をみることができ る。例えば、日本の場合、(2)式の推定では、係数 値は0.13となっており、(2)式の推定に用いた31成 分のうち、13%が外国平均価格調整を受けたこと を示唆している。実際に、31成分のうち、どの程 度外国平均価格調整を受けたかを調べると、19% であり、近い値である。式(3)ではパネル・データ で同様に $(1-\theta)$ の係数値を得ているが、この場 合、日本では理論値で33%となっており、実際に 外国平均価格調整を受けた成分を調べると32%と 非常に近い結果となっていた。これらの日本の推 定結果は、(3-2)式によって、米国価格との差の影 響度を推定できることを証明する結果となってい

米国と独の価格プレミアムの関係 図 2



る。

この係数は、日欧各国とも正で有意となってい る。大変興味深いことに、英国でも $(1-\theta)$ は有 意になっており、0.19と日本より高い数値を示して いる。英国では正式な参照価格制度は無いが、米 国価格の水準が間接的にその薬価プレミアムに反 映されていることを示唆している。また、新薬の評 価(薬価)がもっぱら費用対効果を反映して行わ れていることを仮定して推定を行った Comanor 他 (2018) の研究に重要な歪みがあることも示唆して いる。次に、 $(1-\theta)$ の係数値から θ を求め、米国 における新薬の価格プレミアムの係数 β/β^* を計 算した。結果は先に述べたように、日欧4か国いず れも1より低い係数値となっており、独、英、仏、 日本の順で大きい数値となっている。各国で式 (1)の推定式から得られた値に近いが、より小さい。 (1)式では β/β^* は過大に評価される傾向がある。

最後に、パネル・データを用いた式(3)の結果の 中で、表に示している β/β^* は式(3-1)の係数値で ある。これは、パネル・データであり、推定に用 いた対象医薬品成分が増加しており、上市時点も 異なるため、式(1)の β/β *とは数値が異なるが、傾 向は同じである。これまでと同様に、日欧4か国 いずれも1より有意に低い係数値となっており、 独、英、仏、日本の順で大きい数値となっていた。 ただし、いずれの国でも、米国の新薬の価格プレ ミアムの係数は小さくなる傾向があり、新薬プレ ミアムが米国と比較して日欧では新薬のライフサ イクル経過によって低下する傾向があることを示 唆している。日本では、今回分析対象となってい る医薬品成分のほとんど(69成分中67成分)は新 薬創出加算による加算対象となっており、新薬の 価格は上市後も維持されている傾向があると予想 されるが、米国と比較して価格プレミアムは低下 している。

また、 $(1-\theta)$ の係数値は式(3-2)より得られた 数値であるが、先に述べたように、日本において 外国平均価格調整の影響を良く反映しており、実 績と推定値の整合性が高い。欧州各国については、 式(2)による初期価格による推定値と、式(3-2)によ るパネル・データによる推定値と比較的に近く、 有意であり、パネル・データで見ても、結果的に 欧州各国において米国の価格プレミアムに加え て、米国における価格水準自体も影響を与えてい ることが示唆される。

結語

本稿では、新薬の既存比較薬に対する付加価値 を、日欧各国の薬価制度が米国と比較してどの程 度評価しているかを、新薬の比較薬に対する価格 プレミアムのデータを構築して分析した。Comonar 他 (2018) の研究を主に3つの点で拡張し た。主要な知見と示唆は以下の通りである。

第一に、米国の新薬価格プレミアムは日独英仏 の新薬価格プレミアムを有意に予測しているが、 その程度は各国とも有意に1より小さい。米国の 価格プレミアム(対数)を横軸、当該国の価格プ レミアム(対数)を縦軸とした傾向線の係数の大 きさは、独、英、仏、日本の順で大きく、日本は 欧米と比較して、新薬の健康上の効果をその薬価 の上昇率に反映する程度が小さいことが示唆され る。同時に、日本と仏では独や英と比較して、新 薬プレミアムの変動を米国の新薬プレミアムの変 動で説明できる程度が小さいが、日本では傾向線 の傾きが小さいことが主因であるのに対して、仏 ではそれに加えて国内の価格プレミアムのバラツ キの程度が大きいことも重要な原因である。

第二に、各国の価格プレミアムには、米国の価 格プレミアムをコントロールしても、米国におけ る比較薬薬価の日欧各国の薬価に対する水準が有 意に影響を与えている。その係数の推定値は、日 本の場合、外国平均価格調整の利用頻度と非常に 近い結果となっており、このような推定によって、 各国の薬価形成における外国価格の影響を評価で きることを示唆している。この係数は、日欧各国 において、正で有意となっており、興味深いこと に、正式な参照価格制度が無い英国でも有意にな っており、英国でも、米国価格が間接的に反映さ れていることを示唆している。したがって、新薬 の評価 (薬価) がもっぱら費用対効果を反映して いることを根拠に推定を行った Comanor 他 (2018)の研究には重要な歪みがあることも示唆し

ている。

最後に、初期価格ではなくパネル・データで推 定しても、上記とほぼ同じ結果が得られた。ただ し、日欧各国で、米国の新薬価格プレミアムの係 数は小さくなる傾向があり、米国と比較して新薬 プレミアムが日欧では新薬のライフサイクル経過 によって低下する傾向があることを示唆してい

これらの結果は、日独英仏各国の規制価格が、 米国の市場原理による価格決定と有意に類似はし ているものの、同時にかなり異なる結果をもたら していることを示唆している。また、各国で既存 比較薬に対する付加価値だけではなく、米国との 価格差も有意な影響が検出され、それが新薬の価 格プレミアムについて日欧と米国を接近させる一 つの要因となっていることも重要な発見であっ

今後の研究課題は多い。第1に、我々は米国の 薬価をベンチマークとした。市場原理に基づく価 格決定は、競争を反映し、製品の革新性を反映し た効率的な価格設定となると考えられるからであ る。しかし、有効な競争が必ずしも機能していな い場合も考えられ、米国における新薬の価格プレ ミアムが十分に医薬品の革新性を反映したもので あるかについても検証をしていく必要がある。第 2に、Comanor他 (2018) による米英の30医薬品 成分を用いて上市時価格の分析を行った結果で は、傾きはほぼ1であり、我々の結果と大きく異 なっており、その原因の分析が重要である(彼ら の研究では価格比が100を超えている場合があり、 これらが推定結果を決めている可能性がある)。

補論1 価格の推定モデル

新薬iとその既存比較薬の健康上の効果は、同 じ基準で測定され、それぞれ q_i と q_{0,i} だとする。 これらは、薬を投与しない場合と比較したQALY (Quality Adjusted Life Years) の改善度合いと考 えてもよい。比較薬の薬価は、その国の健康改善 への支払い意欲wに比例し、また当該疾患特有の 事情(治療に対する需要等)α、及び当該医薬品 の効果を反映して以下のように決定されるとす る。

$$p_{0,i} = w \alpha_i (q_{0,i})^{\beta}$$
 (1.1)

 $CCC\beta$ ≥ CCC CC ば、比較薬の薬価は、その健康上の効果に等しく 比例的に設定されるということになり、 $\beta = 0$ なら 価格は健康上の効果を反映しない。新薬も比較薬 と同じフォーミュラ (方程式) を利用し、同時にそ の効果の高さを反映して決定されるとすると、

$$p_i = w \alpha_i (q_i)^{\beta} \qquad (1.2)$$

(1.1) と (1.2) 式の両辺に対数をとって新薬と 比較薬の差分をとると、新薬の価格プレミアム(比 較薬に対する価格上昇率) は、この場合

 $premium_i = lnp_i - lnp_{0,i} = \beta(lnq_i - lnq_{0,i})$ となる。基準国 (米国) でも同じように薬価が決 定されているとすると

premium_i* = $\ln p_i^* - \ln p_{0,i}^* = \beta^* (\ln q_i - \ln q_{0,i})$ となり、この場合、国内の価格プレミアムと基準 国の価格プレミアムとの関係は

(4)式(本文のモデル式(1)に対応)を推定するこ とによって、ある国が基準国と比較して、新薬の 健康上の効果が高いこと (qi が大きいこと) が、 その薬価の上昇率にどの程度反映されているかを 知ることができる。ただし、新薬の薬価と比較薬 の薬価の差は、以下に示すように、薬価の水準自 体を決める要因 $w\alpha_i$ との大きさとの積で決まり、 (4)式にはこれは反映されていないことに留意する 必要がある。

 $p_i - p_{0,i} = w \alpha_i \{(q_i)^\beta - (q_{0,i})^\beta\} = p_{0,i} \{(q_i/q_{0,i})^\beta - 1\}$ 何らかの理由で新薬や比較薬も全般に薬価が低 い場合でも $(\alpha_i$ がどの疾患でも小さい)、 β は大き いことも十分ありうる。

新薬の薬価が比較薬との比較ではなく、日本の 外国平均価格調整のように、海外の薬価を参照し て決められている場合、

$$p_i = \gamma p_i^*, \quad 0 < \gamma \le 1 \tag{6}$$

となる。ここで γ は一定値だとする (日本の外国平 均価格調整の場合、pi*が非常に高いと、当該国は 価格調整において除外されるため、低くなる内生性 があり、これは以下の推定式では、外国平均価格調 整の影響を小さくする傾向にある)。これを新薬の 価格プレミアムを左辺にするように書き直すと、

 $\ln p_i - \ln p_{0,i} = (\ln p_i^* - \ln p_{0,i}^*) +$

 $(\ln p_{0,i}^* - \ln p_{0,i}) + \ln \gamma$ (7)

となる。すなわち、外国平均価格調整の場合、基 準国での価格プレミアムがフルに反映され、また 基準国と比べた比較薬の薬価差も解消されるよう に、薬価が決定されると理解して良い。欧州では、 外国平均価格調整は考慮事項の一つであり、新薬 の価格プレミアムは(4)式と(7)式のハイブリッドで 決定されており、それぞれのウエイトを θ と $1-\theta$ とすると、

 $lnp_i - lnp_{0,i} = (\frac{\theta \beta}{\beta^*} + (1 - \theta))(lnp_i^* - lnp_{0,i}^*) + (1 - \theta)$ $(\ln p_{0,i}^* - \ln p_{0,i}) + (1 - \theta) \ln \gamma$ (8)

(8)式は一般化した推定式であり、推定された基 準国と比べた比較薬の薬価差の係数値(1-θ)が 基準国の薬価が参照される程度を示す。また、そ の係数値を用いて、新薬の価格プレミアムが当該 国に反映される程度を、国内の制度の影響($\frac{\theta\beta}{R^*}$) と外国平均価格調整 (海外との価格差) の影響 (1 - θ) に分けて分析することができる。

補論2 推定結果の詳細

式(1)

		日欧各国の新薬の価格プレミアム				
	日本	独	英	仏		
米国の新薬の価格プレミアム	0.305***	0.763***	0.654***	0.523***		
	(0.048)	(0.149)	(0.138)	(0.178)		
定数項	0.082*	0.243***	0.228***	0.225*		
	(0.042)	(0.060)	(0.060)	(0.111)		
観測数	31	25	21	20		
決定係数(R 自乗)	0.318	0.563	0.477	0.194		

注1:*、**、*** はそれぞれ統計的に10%、5%、1%水準で有意であることを示す。

注2:カッコ内は不均一分散に対して頑健な標準誤差。

式(2)

		日欧各国の新薬の価格プレミアム				
	日本	独	英	仏		
米国の新薬の価格プレミアム	0.362***	0.777***	0.724***	0.541**		
	(0.065)	(0.142)	(0.150)	(0.217)		
比較薬の米国と各国の価格差	0.135*	0.269**	0.188**	0.365**		
	(0.067)	(0.102)	(0.082)	(0.171)		
定数項	-0.013	0.092	0.074	-0.200		
	(0.054)	(0.072)	(0.088)	(0.140)		
観測数	31	25	21	20		
決定係数(R 自乗)	0.393	0.668	0.555	0.380		

注1:*、**、*** はそれぞれ統計的に10%、5%、1%水準で有意であることを示す。

注2:カッコ内は不均一分散に対して頑健な標準誤差。

式(3-1)

		日欧各国の新薬の価格プレミアム				
	日本	独	英	14		
米国の新薬の価格プレミアム	0.242***	0.656***	0.514***	0.337***		
	(0.018)	(0.013)	(0.023)	(0.022)		
定数項	0.117***	0.065***	0.085***	0.199***		
	(0.009)	(0.010)	(0.011)	(0.016)		
観測数	1525	1700	1548	1381		
成分数	63	61	58	49		
決定係数 (R 自乗)	0.208	0.639	0.357	0.199		

注1:*、**、*** はそれぞれ統計的に10%、5%、1%水準で有意であることを示す。

注2:カッコ内は不均一分散に対して頑健な標準誤差。

式(3-2)

	日欧各国の新薬の価格プレミアム					
	日本	独	英	仏		
米国の新薬の価格プレミアム	0.439***	0.709***	0.641***	0.539***		
	(0.019)	(0.014)	(0.022)	(0.025)		
比較薬の米国と各国の価格差	0.332***	0.251***	0.285***	0.472***		
	(0.020)	(0.016)	(0.021)	(0.018)		
定数項	-0.203***	-0.159***	-0.251***	-0.448***		
	(0.025)	(0.017)	(0.025)	(0.031)		
観測数	1279	1454	1324	1186		
成分数	60	61	58	48		
決定係数(R 自乗)	0.385	0.698	0.443	0.466		

注1:*、**、*** はそれぞれ統計的に10%、5%、1%水準で有意であることを示す。

注2:カッコ内は不均一分散に対して頑健な標準誤差。



公的医療保険の給付のあり方の論点

医薬産業政策研究所 主任研究員 枡田竜育

はじめに

2020年1月20日、当時の安倍内閣総理大臣は、 第201回国会における施政方針演説で、一億総活躍 社会の実現を謳い、全世代型社会保障をめざした 社会保障制度改革の実行を掲げた。「2022年には、 いわゆる団塊の世代が七十五歳以上の高齢者とな る中で、現役世代の負担上昇に歯止めをかけるこ とは、待ったなしの課題です」との表現を用い、 75歳以上であっても一定以上の所得がある方の窓 口での二割負担、大病院の受診時における定額負 担に言及した。この演説に先立つ1月15日、国内 で初めて新型コロナウイルスに関連した肺炎の患 者が報告され、我が国も現代社会として初めての パンデミックを経験している。2021年1月18日、 菅内閣総理大臣は、第204回国会における施政方針 演説を「安心」と「希望」をキーワードに行った。 「若者と高齢者で支え合い、若い世代の負担上昇を 抑えることは、長年の課題であり、いよいよ待っ たなしです」との表現のもと語られたのは、75歳 以上の窓口負担2割への引上げによる720億円の 現役世代の保険料負担削減と薬価の毎年改定の実 施で7割の品目の薬価を引き下げ医療費で4.300 億円、国費で1,000億円の国民負担の軽減を行うと する新政権の実績である。

2013年、民主党政権下で国民に発せられた「社 会保障制度改革国民会議報告書」1)では、すでに 「待ったなし」との文言が読める。「制度の改革に ついては、将来あるべき社会像を想定した上で、 短期と中長期に分けて実現すべきである。すなわ

ち、まずは、消費増税という国民負担を社会保障 制度改革の実施という形で速やかに国民に還元す るため、今般の一体改革による消費税の増収が段 階的に生じる期間内に集中的に実施すべき改革で ある。また、中長期とは、団塊の世代がすべて75 歳以上となる2025 (平成37) 年を念頭において段 階的に実施すべき改革である。こうした時間軸に 沿って、国民の合意を得ながら、目標に向けて着 実に改革を進め、実現していくことが必要である。 そもそも、少子高齢化が急速に進む我が国の現状 を踏まえれば、社会保障制度改革の実施は先送り できない待ったなしの課題である。このことを十 分に認識しながら、この改革を進めていく必要が ある。」

待ったなしの10年が過ぎていく中、診療報酬の 改定財源でもあるかの如くに薬価の引き下げが行 われる。近年では、薬剤費は度重なる薬価改定の 影響もあり GDP 成長率の変動とほぼパラレルな 動きとなっている(図)。

菅総理大臣は国会における初めての所信表明演 説の中で、安心の社会保障を謳い、「一方で、各制 度の非効率や不公平は、正していきます。毎年薬 価改定の実現に取り組む」と述べた。薬価の非効 率、不公平とは、何を指しているか。まさか薬価 と市場実勢価に乖離が生じることが直ちに非効 率、不公平であるとの短絡的な認識ではないとは 思うが、薬剤費関連に関わらず、制度の非効率や 不公平を正していくことは必要であろう。

我が国において待ったなしの社会保障制度改

¹⁾ https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kokuminkaigi/pdf/houkokusyo.pdf

図:薬剤費の動向(2011年基準)



出所:薬価改定の経緯と薬剤費及び推定乖離率の年次推移 について、中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 (第159回)、20191108、https://www.mhlw.go.jp/stf/ shingi2/0000212451_00018.html、2018年度国民経済 計算、内閣府、https://www.esri.cao.go.jp/jp/sna/ data/data_list/kakuhou/files/h30/h30_kaku_top. html より作図

参考資料:「令和3年度予算の編成等に関する建議」(Ⅱ-1-13薬剤費の動向)、2020年11月25日、財政 制度等審議会財政審で提示された薬剤費・薬価 改定率と GDP の推移のグラフについて、同じ データを用い、基準年を2011年に変更した。

革、とりわけ医療保険制度改革を行っていく上で、 公的保険の負担のあり方、給付のあり方という キーワードは、議論を避けては通れないのではな かろうか。医薬品産業としてもこの議論の動向を 踏まえて上での取り組みが必要であるとの私見に 立って、本稿では、我が国における給付のあり方 についての議論動向を2020年時点として俯瞰して おく。無論、政策動向を見ていく上では全体像の 把握が不可欠であるが、本稿においては、社会保 障のうち医療の公的保険による給付のあり方に直 接的に関係する部分のみを抽出して記載すること とする。

1. 官邸

2014年11月、安倍内閣総理大臣は、消費税の10 %への引上げを法定の2015年10月には行わず18ヵ 月延期する旨を表明し、一方で2020年度を目途と する財政健全化目標は堅持するとして、その達成 に向けた具体的な計画を策定すると述べた。その 後、2015年6月に閣議決定された「経済財政運営 と改革の基本方針2015」の中で、経済と財政双方

の一体的な再生を目指す「経済・財政再生計画」 が定められた。この計画では、主要な改革項目と して社会保障分野について44項目(全体では80項 目)が掲げられている。公的保険による医療の給 付に直接的に関わると考えられる項目としては、 以下が掲げられている2)。

- (表1)「経済・財政再生計画」における公的保険 による医療の給付に直接的に関わると考 えられる項目(公的医療給付関連・番号は 「経済・財政再生計画」における付番)
 - ⑨ かかりつけ医の普及の観点からの診療報 酬上の対応や外来時の定額負担について 検討
- (i) セルフメディケーションの推進 (医療用医薬品の有効成分のうちスイッチ OTC 化が適当と考えられる候補品目につ いて、医学・薬学の専門家、消費者等の多 様な主体で構成する評価検討会議を設置 し、新しい評価スキームの運用を行う)
- ② 世代間・世代内での負担の公平を図り、負 担能力に応じた負担を求める観点からの
 - (高額療養費制度の在り方、医療保険にお ける後期高齢者の窓口負担の在り方)
- ② 公的保険給付の範囲や内容について適正 化し、保険料負担の上昇等を抑制するため の検討

(医薬品や医療機器等の保険適用に際して 費用対効果を考慮すること、生活習慣病治 療薬等について、費用面も含めた処方の在 り方、市販品類似薬に係る保険給付につい て見直し)

消費税引き上げは、2019年10月実施へと再びの 延期が2016年6月に表明されている。「経済・財政 再生計画」は2020年度までの前半にあたる2016年 度からの3年間を集中改革期間と位置付ける計画 であったが、中間評価を経て、「経済財政運営と改 革の基本方針2018」の中で「新経済・財政再生計 画 | が策定されている。この間の各年度の「経済 財政運営と改革の基本方針」(以下、骨太の方針) には、公的医療保険の給付のあり方について下表 のとおりの具体的記載がなされている。

²⁾ https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/special/reform/report_271224_2.pdf

(表2) 骨太の方針における給付のあり方について の記述

骨太の 方針年度	医療の公的保険給付のあり方についての 具体的な記載
2015	●医薬品や医療機器等の保険適用に際して費用対効果を考慮●生活習慣病治療薬等について、費用面も含めた処方の在り方●市販品類似薬に係る保険給付
2016	車新的医薬品等の使用の最適化推進を図る生活習慣病治療薬等の処方の在り方等について
2017	●医師の指示に基づくリフィル処方の推進 ●重複投薬や多剤投与を含む処方の在り 方について
2018	 ●全世代型の給付と負担のバランスの取れた社会保障制度の構築に向け、構造改革を進めていく ●新規医薬品や医療技術の保険収載等に際して、費用対効果や財政影響などの経済性評価や保険外併用療養の活用などを検討 ●薬剤自己負担の引上げについて、市販品と医療用医薬品との間の価格のバランス、医薬品の適正使用の促進等の観点を踏まえつつ、対象範囲を含め幅広い観点から、引き続き関係審議会において検討 ●外来受診時等の定額負担導入を検討
2019	医療等のその他の分野についても、基盤強化期間内から改革を順次実行に移せるよう、2020年度の骨太方針において、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。
2020	2019に準じる(新型コロナウイルス感染症対策のため)

出典) 各年度の「経済財政運営と改革の基本方針」参照 https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/ cabinet/cabinet-index.html

「新経済・財政再生計画改革工程表2020」では、 前述の社会保障関連44項目に加え、負担について は、高齢者医療制度や介護制度において所得のみ ならず資産の保有状況を評価しつつの「能力」に応 じた負担の検討、後期高齢者の窓口負担について 検討が掲げられている。給付については、「薬剤自 己負担の引上げについて幅広い観点から関係審議

会において検討し、その結果に基づき必要な措置を 講ずる」「外来受診時等の定額負担の導入を検討」 「新規医薬品や医療技術の保険収載等に際して、費 用対効果や財政影響などの経済性評価や保険外併 用療養の活用などを検討」が掲げられている。

2. 財務省

我が国の現状の社会保障に対する財務省の基本 認識は、受益(給付)と負担が不均衡3)であり、 この不均衡を是正すべく給付と負担の両面の改革 が必要という側面を持つ。財政制度等審議会は 2020年7月に「今後の財政運営について」を発出4) し、パンデミック発生後の財政運営に関する見解 を示している。一層悪化した財政から目をそらし てはいけないとして、低金利環境の継続を当然視 せず、歳出と歳入の両面への不断の取り組みが必 要であるとしている。社会保障については、制度 改革をいささかも後退させることなく着実に進め ていく必要があるとしている。

「令和3年度予算の編成等に関する建議」では、 公的保険による医療給付について、「国民皆保険を 維持しつつ、制度の持続可能性を確保していくた めの制度改革の視点として、保険給付範囲の在り 方を見直していくことと必要な保険給付であって も効率的に提供していくことが避けられない」と して、効率的な給付にとどまらず明確に給付のあ り方の見直しが必要であるとの認識を例年通り明 記している。「保険給付範囲の見直しのあり方の見 直し」は、「患者に係る保険給付範囲(患者負担) のあり方の見直し」と「医療技術や医薬品等に係 る保険給付範囲のあり方の見直し」に大別して整 理されており、前者には、後期高齢者の患者負担 割合の引き上げや、紹介状なしで大病院を受診す る場合等の定額負担の拡大などが掲げられてい る。後者は、「薬剤費の適正化」とも記されが、「薬

^{3)「}現実には高齢者医療・介護給付費の5割を公費で賄うなど、公費負担に相当程度依存しているうえ、特に近年、公費 負担の比重の大きい高齢者医療・介護給付費の増に伴い、社会保障給付費に占める公費の割合は上昇している。しかも 本来税財源により賄われるべき公費の財源について、特例公債を通じて将来世代へ負担が先送られているため、受益 (給付) と負担の対応関係が断ち切られている。」(令和3年度予算の編成等に関する建議)とある。

https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/report/zaiseia20201125/ zaiseia20201125.html

^{4) 「}今後の財政運営について」2020年7月2日、https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_ fiscal_system/report/zaiseia20200702/01.pdf

剤費に係る予算統制の正常化」(財政影響を勘案し て新規医薬品の保険収載の可否を判断すること や、新規医薬品を保険収載する場合には保険収載 と既存医薬品の保険給付範囲の見直しとを財政中 立で行うことを含む)、新規医薬品の薬価算定方式 の妥当性・透明性の徹底、既存医薬品の保険給付 範囲の見直し、既存医薬品の薬価改定(毎年薬価 改定)などが掲げられている。2021年度の予算編 成の建議の位置づけとしては、給付のあり方につ いての具体的内容は主に薬剤給付に限定した記載 となっている。

3. 全世代型社会保障

骨太の方針に初めて「全世代型社会保障」の文 言が登場するのは2017年の骨太の方針である。そ の後、「全世代型社会保障」のキーワードは重用さ れ、2018年には内閣6)に全世代型社会保障改革担 当大臣が設置された。当初は主に未来投資会議の 中で全世代型社会保障についての議論が行われた が、2019年9月には新たに「全世代型社会保障検 討会議」(以下、検討会議)が総理大臣を議長とし て開催される運びとなった。検討会議は2020年12 月までに通回12回開催され、2019年12月に中間報 告7)を発出している。その後、2020年1月15日に 国内で初めて新型コロナウイルス陽性患者が確認 されて以降、緊急事態宣言を伴うパンデミックを 経験する中で、検討会議の議論も難しい運営を迫 られたことが想像できる。検討会議は「全世代型 社会保障改革の方針(案)」(以下、方針)を2020 年12月14日に取りまとめ8)ている。中間報告、方 針のいずれにも「給付のあり方」という直接的な

表現は登場しない。方針に記載されている給付の あり方に関わると考えられる事項は、「不妊治療へ の保険適用」、「後期高齢者の自己負担割合の在り 方 | 9)、「外来受診時定額負担 | となっている。

3. 厚生労働省

厚生労働省では、上記の骨太の記載や全世代型 社会保障検討会議の進捗を踏まえながら、2018年 に「2040年を展望した社会保障・働き方改革本部」 が設置され2019年5月に取りまとめが発出されて いる10)。また社会保障審議会医療保険部会におい て、医療制度改革に向けた多くの議論が行われて いる。特に全世代型社会保障会議が中間報告を発 した2019年12月以降、パンデミック下にも関わらず 精力的に開催されてきた。この中で給付のあり方に 直接的に関わると考えられる検討項目としては、後 期高齢者の窓口負担の在り方の見直し、不妊治療 の保険適用に向けた検討、薬剤自己負担の引き上 げ、今後の医薬品等の費用対効果評価の活用、大 病院受診時の定額負担が論じられている。なお、薬 剤自己負担の引き上げについては、「市販品類似の 医薬品の保険給付の在り方」や自己負担の引上げ 以外の方策による薬剤給付の適正化策(セルフメ ディケーションの推進等)が論じられている。

4. 支払側の主張

健康保険組合連合会は、「医療費適正化に向けた 給付と負担のあり方に関する調査研究報告書」110 (以下、報告書)を2018年に公表し、「骨太の方針 2015」に記載の事項を中心に、公的医療保険の給 付と負担のあり方について考えられる論点と見直

- 5)「令和3年度予算の編成等に関する建議」本文には「薬剤費適正化」の記載がなされている。参考資料には同表記での タイトルは読み取れないが、本稿で提示した「薬剤費の動向」として20年前の2000年を起点としたGDP、薬剤費、既存 薬価の改定率の推移の比較がなされている。
 - https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/report/zaiseia20201125/ zaiseia20201125.html
- 6) 第4次安倍内閣改造内閣(平成30年10月2日発足)
- 7) 全世代型社会保障検討会議中間報告
 - https://www.kantei.go.jp/jp/singi/zensedaigata_shakaihoshou/pdf/cyukanhoukoku_r011219.pdf
- 8) なお本方針は翌日2020年12月15日に閣議決定されている。 $https://www.kantei.go.jp/jp/singi/zensedaigata_shakaihoshou/pdf/kaikakuhosin_r021215.pdf$
- 9) 方針では、「後期高齢者(75歳以上。現役並み所得者は除く)であっても課税所得が28万円以上(所得上位30%2)か つ年収200万円以上(単身世帯の場合。複数世帯の場合は、後期高齢者の年収合計が320万円以上)の方に限って、その 医療費の窓口負担割合を2割とし、それ以外の方は1割とする。」とされた。
- 10) https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-syakaihosyou_306350_00001.html
- 11) https://www.kenporen.com/include/outline/pdf/chosa27_01.pdf

しの方向性を示した。健保連は、報告書の中で、 給付と負担のあり方について「本来、保険では、 支出に見合った保険料収入を確保することが基本 である。一方で、保険料は経済と密接に結びつい ており、医療支出の増加に合わせて、保険料を増 やすことには限界がある。このように負担能力に 限界がある中で、どこまでを給付範囲とするのか、 あるいはどこを給付外とするのか議論する必要が ある。」としている。そのうえで、具体的には、 (1)在宅療養等との公平確保「入院患者の居室代見 直し」、(2)受診時定額負担・保険免責制の導入、 (3)生活習慣病治療薬等についての費用面も含めた 処方のあり方、(4)市販品類似薬等に係る保険給付 の見直し、(5)長期収載品に対する保険給付のあり 方の見直しについて、論点と見直しの方向性をま とめている。一部、方向性を抜粋すると、(3)につ いては、費用対効果評価の仕組みを導入したフ ォーミュラリや処方ガイドラインを作成・運用し ていくべきとしている。また(4)については、保険 給付の範囲を見直し、一般用医薬品として定着し た市販品類似薬について給付から除外することや 給付に一定の条件・上限を設けること、セルフメ ディケーション推進の観点からより一層の OTC 化を推進することが必要である、としている。

また、2019年5月には、白血病治療薬「キムリ ア」の保険適用を受けて「「保険給付範囲の見直 し」に向けた意見」12)を健康保険組合連合会と全 国健康保険協会が連名で発出し、公的医療保険の 給付範囲について、除外も含めて、改めて見直し を検討することが喫緊の課題であるとしている。 具体的には重症疾患の保険でのカバーを確実にす る一方、軽症疾患用医薬品に対するスイッチOTC の推進、医薬品の重要度に応じた保険償還率の段 階設定などの検討を求めている。

さらに、「次期(筆者注2020年度)診療報酬改定 に向けた政策提言」を2019年8月に発出した。こ の中で給付のあり方に関し、花粉症治療薬のOTC 類似薬全般について、保険適用からの除外や自己 負担率の引き上げを進めるべきとしている。

5. その他

一方、日本医師会は、全世代型社会保障検討会 議の最終報告取りまとめなど政府の動向につい て、定例記者会見の中で言及している。この中で、 「財政面からの保険給付を狭めるような議論では なく、いかに国民の健康を守るかという視点から の議論をして欲しい」と要望している。また、「日 本医師会としては社会保障給付の大幅カット、歳 出縮小は国民生活を脅かし容認出来ない」との考 え方も示している13)。

6. まとめ

以上、医療の公的保険による給付というキー ワードに注目して、昨今の議論を概観した。日本 は、赤字国債を発行しながら、社会保障の給付を 先行させるという「給付先行型福祉国家」を作り 上げてきた。その過程では、給付のみならず、景 気も先取りしてきたとの指摘130もなされている。 プライマリバランス黒字化の要否を含め、財政政 策のあり方は、本稿の全くの対象外であるが、将 来にわたって持続可能な社会保障制度を築いてい く必要性は一般的な合意があるものと考える。こ れまで医療の給付と公的保険の関係性をどう考え るかについては、必要な医療は保険で給付するこ とが基本とされてきた。この考え方に今後いかに 向き合っていくかは、単に財政の問題のみならず、 衛生観念や健康に対する考え方、果ては死生観ま で含め、本質的には国民的議論が必要であろう。 薬剤費を社会保障財政の調整要素とし続けること は持続性のある対応とは言えないだろう。また薬 剤給付のあり方を論じるとなると、薬剤給付は医 療給付の一部であることを踏まえると、医療自体 の給付のあり方を論じることが必要となるだろ う。関係者による不断の議論を期待したい。

policy/conference/000381.html

¹²⁾ https://www.kenporen.com/press/2019-05-15-11-49.shtml

^{13) 「}平成30·令和元年度医療政策会議報告書 人口減少社会での社会保障のあるべき姿」、2020年3月、https://www.med. or.jp/dl-med/nichikara/isei/isei_r01.pdf 「平成30·令和元年度 医療政策会議報告書」、2020年3月、日本医師会医療政策会議、https://www.med.or.jp/doctor/



-般生活者が考える薬の価値と受診等のあり方

ーコロナ禍を踏まえた Web アンケート調査よりー

医薬産業政策研究所 東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 横浜市立大学医学群健康社会医学ユニット 主任研究員 中野 陽介 研究員 廣實万里子 客員准教授

准教授 五十嵐 中

1. はじめに

著者らは過去の政策研ニュース1-3)にて、医薬 品の多様な価値について言及し、海外における価 値評価や臨床試験でのアウトカム測定等の現状や 課題について調査し報告してきた。

そのよう中で生じた新型コロナウイルス感染症 という未知の感染症の世界的な拡大(パンデミッ ク)は、感染症のみならず医療や治療に対する人々 の意識や価値感に大きな変化を与えたと推察され る。

これまでにも新薬コロナウイルス感染症影響下 における患者や一般生活者への医療や受診に関す る意識調査はいくつか実施されているが4-5)、薬 や処方への考え方等について調査したものはない との認識である。

そこで、このような大きな環境変化を一つの契機 として、一般生活者が重要視する薬の多様な価値 (有効性・安全性・治療費以外の観点)、さらには今 後の受診や処方に対する考え方などを把握する目 的で Web アンケート調査を試みた。本稿では、こ の調査結果を速報版という位置づけで報告する。

2. 調査方法

今回の Web アンケート調査は以下の内容で実 施した。

①調查地域:全国47都道府県

②対 象:満20~69歳の男女(男女比約1:1)

③回答者数:2.155人

④抽出方法:インターネット調査用パネルより

無作為抽出

⑤調査方法:インターネット調査

⑥調査期間:2020年11月19日~27日

(7)調査機関:株式会社インテージへルスケア ※調査サンプル(地域、年齢)は全国の人口構成

比にできる限り合わせて抽出した。

本調査期間である2020年11月下旬は国内で「新 型コロナ第3波」にまつわる情報がニュース等で 頻繁に取り上げられていた時期であり、一般生活 者において新型コロナウイルス感染症の感染拡大 に対する耳目が再び集まり始めていた中で実施さ れたものである。

なお本調査は、定点調査によって新型コロナウ

¹⁾ 医薬産業政策研究所. 「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 - 」政策 研ニュース No.59 (2020年3月)

²⁾ 医薬産業政策研究所、「医薬品による介護者 QOL・介護負担等への波及価値 - アウトカム評価の観点から - 」政策研ニ ユース No.60 (2020年7月)

³⁾ 医薬産業政策研究所. 「医薬品における労働生産性アウトカムの評価と利活用の現状」政策研ニュースNo.61 (2020年11

⁴⁾ 日本医師会総合政策研究機構、「第7回 日本の医療に関する意識調査」日医総研ワーキングペーパー No.448 (2020年

⁵⁾株式会社三菱総合研究所「個人の健康管理や医療機関の受診に関する意識調査」(https://www.mri.co.jp/news/ press/20200612.html)

イルス感染症の影響前後を比較した調査ではない こと、対象年齢が限定的であることは調査の限界 として事前に提示しておく。

3. 調査結果

3-1. 有効性・安全性・治療費以外に重要視す る薬の価値

薬の多様な価値(薬の有効性、安全性ならびに 治療費以外)に対して、一般生活者がどのような 価値要素を重要視するのかについて質問を行っ た。その際、疾患を想起した場合としない場合で の相違も見るために、【疾患想起なし】と【疾患想 起あり】に分けた質問を設定した。提示した質問 文と回答選択肢を図1に示す。

なお、今回の調査で用いた価値要素の選択肢は、 ISPORの Task force レポート⁶⁾、著者らがこれま で調査してきた内容¹⁻³⁾ および海外 HTA 機関の 動向7、8)を踏まえて検討・抽出した。

■疾患想起なし

疾患の想起を行わなかった場合の回答結果を 図2に示した。本質問では回答上限を設定せずに

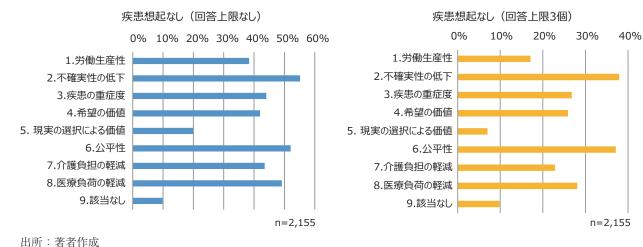
「重要視する薬の価値」に関する質問と回答選択肢

質問:新しいくすりの価値として、くすりの有効性(効き目)・安全性(副作用など)や治療費 (薬代や、将来の病気の治療費) 以外に、大事だと思う項目は?

選択肢	説明文	価値要素
1	薬の治療により、仕事を休んだり、辞めたりするのを避けられること	労働生産性
2	薬を使う前の検査で、効き目や副作用の程度が事前に分かること	不確実性の低下
3	重い病気や命に関わる病気の治療薬であること	疾患の重症度
4	薬を使った人全員でなくても、完全に治るなど大きな効果を期待できること	希望の価値
5	完治はできなくても、余命を延ばせること (余命が伸びた間に、さらによい 治療法が開発される望みがある)	現実の選択による価値
6	経済格差や人種差などに関わらず、その治療を受けることができること	公平性
7	病気のケア・サポートを行う家族等の身体的・精神的・経済的な負担が 軽減されること	介護負担の軽減
8	医師、看護師、薬剤師などの医療従事者の負担を軽減できる・業務を 効率化できること	医療負荷の軽減
9	この中には1つもない	該当なし

出所:著者作成

図2 有効性・安全性・治療費以外に重要視する薬の価値(疾患想起なし)



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

8) 五十嵐 中、「カナダでのレムデシビル評価は」、間違いだらけの HTA、医療経済 11.1.2020

⁷⁾ 五十嵐 中、「COVID-19に関する英 NICE の動き」、間違いだらけの HTA、医療経済 5.1.2020

回答し、後に最大3つまでに絞り込む方法をとっ たが、両者での回答傾向に大きな差は見られなか った。

まず、最も高い割合であったのは、「不確実性の 低下(事前の検査によって効果や副作用が予見で きること) | に関する価値であった。これは、いわ ゆる、近年話題となっている個別化医療あるいは 精密医療(プレシジョンメディシン)に関連する ものであり、5割以上(回答制限なし)の回答者 が重要視していることが確認された。続いて、「公 平性」、「医療負荷の軽減」の回答割合が高かった。 特に「医療負荷の軽減」が上位に入った点は非常 に興味深い結果であった。

■疾患想起あり

次に具体的な疾患を提示した場合の回答結果を 図3に示した。疾患については、患者の QOL や 精神面への影響等が異なる3つのタイプ(高血圧、 関節リウマチ、がん) に関する疾患状態の説明文9) (文末に補足資料として掲載)を提示した。

これら3つの具体的な疾患を想起させた場合の いずれにおいても「不確実性の低下」は上位であ り、疾患想起がない場合と同様であった。一方で、 「医療負荷の軽減」の割合は疾患想起がない場合よ りも減少しており、疾患想起がない場合には新型コ ロナウイルス感染症をはじめとした重症化する可

能性のある感染症等に対する治療薬やワクチンに 対する意識が高かった可能性が推察された。

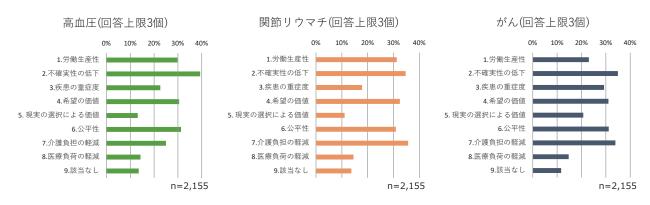
また、疾患ごとに比較すると、それぞれの疾患 で、少しずつ重要視する価値は変化しており、そ の中でも特に「介護負担の軽減(病気のケア・サ ポートを行う家族等の身体的・精神的・経済的な 負担の軽減) に関する価値が、関節リウマチやが んで高くなっていた。

3-2. 優先する価値の視点(有効性・安全性・ 治療費以外)

薬を選択する際に、有効性、安全性ならびに治 療費以外の観点で、誰の視点(立場)を優先して 考えるのかについて質問を行った。その際の質問 文と回答選択肢は図4に示した通りである。

結果は、自分、家族、医療従事者、社会の順で 優先度が高かった(図5)。これは自分からの距離 感が近い程、優先度が高いという解釈ができ、あ る程度想定通りの結果であった。しかし、その一 方で、第1位および第2位において、医療従事者 あるいは社会の視点を重要視していると回答した 割合は、第1位でおよそ5人に1人(約22%)、第 2位でおよそ3人に1人(約32%)であり、筆者 らの想定よりも割合が高い印象を受けた。

図3 有効性・安全性・治療費以外に重要視する薬の価値(疾患想起あり)



出所:著者作成

⁹⁾ 医薬産業政策研究所. 「一般生活者と医師における治療薬に関するニーズの優先度の相違について (予備的調査)」政策 研ニュース No.57 (2019年7月) で用いられた疾患想起文章を参照

図4 「優先する価値の視点」に関する質問と回答選択肢

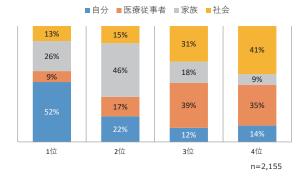
質問:薬を選択する場合、薬の効きめ(有効性)、副作用の頻度や内容(安全性)、 治療費の観点に加えて、以下の観点の中から重要と思う順に順番をつけてください

選択肢	説明文	視点
1	自分が仕事(家事や学業含む)や社会と関わる活動等を続けていけること	自分
2	医師や看護師等の負担軽減につながること	医療従事者
3	自分をケア・サポートしてくれる家族の負担軽減につながること	家族
4	社会全体として、医療費削減等のメリットがあること	社会

出所:著者作成

図5 優先する価値の視点(有効性・安全性・治 療費以外)

優先する視点の順位付け



出所:著者作成

3-3. 新しい生活様式における今後の受診や処 方に対する考え方等について

ここからは、一般生活者における今後の受診や 処方に対する考え方等についての回答結果を示 す。

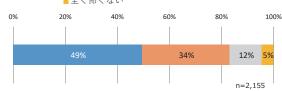
■未知の感染症に対する恐怖心

今後の受診や処方に対する考え方等を把握する 前提として、新薬コロナウイルス感染症の経験を 踏まえて、調査時点での未知の感染症に対する恐 怖心について質問した。

結果は図6に示す通り、おおよそ5割の方は現 時点でも未知の感染症に対する恐怖心を感じてい た。この状況は今後の受診や処方に対する考え方 等にも一定の影響は及ぼしていると考えられる。

図6 未知の感染症に対する恐怖心

- Q. 新型コロナウイルスの影響を経験して、未知の感染症に対して 現在どの程度恐怖を感じているか
 - ■今でも非常に怖い
 - ■一時的に怖く感じたが今はそこまで怖くない
 - ■最初からあまり怖くない
 - ■全く怖くない



出所:著者作成

■今後の受診等に関して

今後の通院や対面受診に対して何らかの懸念を 感じている人は多く、(図7上) 懸念事項としては 「他の患者さんとの接触(50%)」、「医療機関自体 への訪問(42%)」の順で多かった。

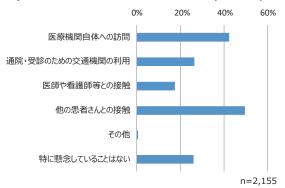
一方で、今後の受診方法については、6割を超 える人が対面を中心とした受診を考えていた (図7下)。やはり従来の受診スタイルを望む方が 多いことが確認された。その反面、オンライン診 療を中心としたいと考える方も2割程度いること がわかった。加えて、"一部利用したい"も含める と5割超はオンライン診療に対して前向きであ り、これは他の調査5)とも近い結果であった。

なお、本アンケート内で、患者(新型コロナウ イルス感染拡大以前から月に1回以上の定期通院 をしていた方)のみを対象に「オンライン診療の 利用経験」を質問したところ、オンライン診療の 経験ありと回答したのは約1割程度であった。

つまり、実際のオンライン診療の経験者は、実

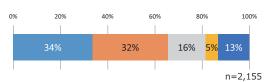
図7 今後の受診等に関して

Q. 今後の通院や受診において懸念している点 (複数回答)



Q. 今後の医療機関での受診(対面での受診・オンライン 診療) に対する考え方

- ■従来诵りの対面での受診のみを希望する
- ■対面での受診を中心とし、オンライン診療も一部利用したい
- ■オンライン診療を中心とし、対面での受診も一部利用したい
- ■オンライン診療のみでの受診を希望する
- ■オンライン診療が分からない



出所:著者作成

診療下では少なかったものの、オンライン診療を 中心とした受診を希望する方は全体で2割程度お り、ある程度のニーズはあると言える。

■今後の処方に関して

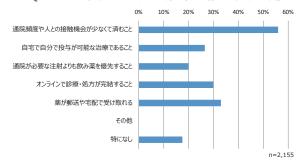
今後の薬・処方に対する考えでは、通院頻度・ 接触の減少をはじめ、自己投与、オンライン処方 や宅配も一定以上のニーズがあることが確認され た(図8)。その中でもオンライン処方や薬の宅配 に関しては3割以上のニーズがあり、薬を受け取 るという行為に対する利便性の向上を期待する声 が一定数あることが伺える結果であった。

4. まとめ

新型コロナウイルス感染症の影響を踏まえ、一 般生活者を対象とした薬や受診などに対する価値 観や考え方についての Web アンケート調査を実 施した。その結果、いくつかの興味深いインサイ トを得ることができた。

図8 今後の処方に関して

O. 今後、治療薬の処方を受ける際に求める配慮(複数回答)



出所:著者作成

まず、一般生活者の間でも医薬品による『医療 負荷の軽減(人的・物的負荷)』の価値を認識して いる、あるいは期待していることが確認された。 この価値自体は従来から考え得るものではある が、新型コロナウイルス感染症の感染拡大前の調 査であれば、あまり認識されていなかった可能性 は高く、新型コロナウイルス感染症を契機として、 強く認識されるようになったものと推察される。 つまり、薬の価値は不変ではなく、時代や社会情 勢等の変化によっても変わり得るということに改 めて気付かされた結果であった。

実際に、新型コロナウイルスのパンデミックの 影響を受けて、一部の海外 HTA 機関(イギリス やカナダ)のガイドラインや評価レポートでは、 医薬品による 『医療負荷の軽減 (人的・物的負荷)』 を価値として認識、言及するような事例が見られ ており7.8)、今回の調査結果はその動向ともリンク している。

また、3つの具体的な疾患を提示した設問を通 じて、疾患に応じて、重要視する価値が変わるこ とも確認することができた。基準を決めるのは容 易ではないが、疾患に応じて考慮および評価を行 う価値要素を検討していく必要性があるではない かと考えられる。例えば、自分自身をケア・サポー トしてくれる家族等の「介護負担の軽減」は、重 要視している人が多い価値の要素である。ただし、 このような価値を適切に評価していくには、さら なる検討や研究を進めていく必要があろう。

さらに、疾患に関わらず「不確実性の低下」を 重要視する人が多かった。これは、現状、多くの 一般生活者(患者)は、薬の効果や副作用に対す る不安等を持っているとも言える。事前に知るこ と、分かることは、患者さんにとって安心感をも たらすと共に、自分に合わない薬である場合には 治療変更を決断しやすくなるなどの価値がある。 この「不確実性の低下」に対する価値やその評価 については今後もっと議論されていくべき要素だ と考えられた。

最後に、今後の受診や処方に対しても、一般生 活者の新たなニーズ(オンライン診療・処方、薬 の宅配など)が一定割合あることが確認された。 感染拡大を契機に、徐々に新たなソリューション が提供され、患者さんの受診行動や医療提供のあ り方も変化していくと考えられる。製薬企業にと ってはそのような変化への備えと対応が求められ ていくことになるだろう。

補足資料:

「有効性・安全性・治療費以外に重要視する薬の

価値(疾患想起あり)」の質問における提示した各 疾患の想起文章9)。

図9 疾患想起の提示文

<高血圧>

今は自覚症状はないものの、検査した結果、生活習慣病の 高血圧と診断された。心筋梗塞など大きな病気を予防するた めに、薬による治療を始めることにした。

く関節リウマチ>

関節リウマチが発症し、命に別状はないものの、手足の関節が 痛み、食事、歩行移動、トイレ、入浴などの日常生活や仕 事、家事に支障が生じている。このことにより、生活の質も継 続的に低下している。

<がん>

がんが発症し、余命への影響、痛み、倦怠感のような身体的 不具合が生じる可能性がある。現在の抗がん剤治療を使用し た場合には、治療中に感染症にかかりやすくなったり、貧血・ 吐き気・口内炎・下痢・脱毛・皮膚の障害などの症状が副 作用として現れ、日常生活あるいは仕事や家事などにも支障 が生じ、場合によっては介助が必要なほど生活の質が大きく低 下することが想定される。

出所:著者作成

HTA 機関における意思決定要因の解析

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 医薬産業政策研究所

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 横浜市立大学医学群健康社会医学ユニット

廣實万里子 研究員 主任研究員 中野 陽介 客員准教授

> 准教授 五十嵐 中

1. はじめに

費用対効果評価の政策応用、いわゆる狭義の HTA (Health Technology Assessment) は、限 られた予算を様々な医療サービスに適切に配分す るための優先順位付けを目的に世界の各国におい て実施されている。多くの国(例えば、英国、北 欧諸国、オーストラリア、スウェーデン、韓国、 タイ)では医療技術の給付の可否の判断に HTA を用いており、HTA 機関の判断は、その国の医 療プログラムの選択肢に大きく影響する。給付の 可否の判断に HTA を用いる以上、薬事申請で認 可されたが、HTA 機関の判断により非給付とな るケースが生まれるのは必然である。反面、「HTA 機関の判断で非給付とされる」ことは、「費用対効 果が悪いために非給付とされる」こととは必ずし も同義ではない。どのような判断基準によって「非 給付」の決定が下されたのかを検証することは、 広く医薬品の価値を吟味していく際の参考にな る。そこで本稿では、HTA を医薬品の給付の可 否に用いている国において、非給付の理由につい ても比較的詳細な情報公開をしている機関として オーストラリア PBAC に着目し、HTA 機関にお ける医薬品の給付可否に関する分析を行い、そこ から得られた知見をまとめた。

2. オーストラリアにおける HTA 機関 PBAC

オーストラリアの公的医療制度は税金ベースで

運営されている。

処方せん医薬品は、まず保健省内にあるTherapeutics Goods Administration (TGA) という組織 において承認を受けた後、Australian Register of Therapeutic Goods に登録されることで使用が可 能になる。その後、公的医療制度である Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) への収載を申請 する。

HTA 機関である Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) は保健省 (Department of Health and Ageing) 内の組織であり、処方せ ん医薬品について企業から提出されたデータを年 3回レビューし、PBS 収載・すなわち保険償還の 可否を決定する。1993年以降、PBSでの給付を希 望する際には費用対効果のデータの添付が必須と なっている。なお、病院内でのみ用いられる医薬 品は、入院治療をカバーする制度が州政府管轄と なるため、連邦管轄の PBAC の範疇外となる。 PBACのレビューの結果として非給付と判断され た際には、その判断理由が提示され再度企業は新 たなデータをPBACに提出し、再レビューの機会 を得ることが出来る。

3. PBAC における非給付判断とその理由

PBS のウェブサイトで、医薬品ごとの Public summary document の結果が公開されている¹)。 この公開資料をもとに、PBACの評価結果とその

¹⁾ https://www.pbs.gov.au/info/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/public-summary-documents-by-product

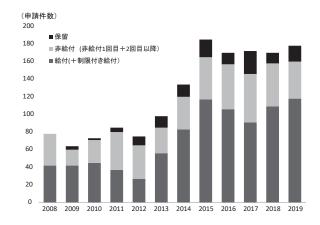
内容を分析した。2008年から2019年までの期間に 評価された1.485件の評価結果が対象となった。英 国 NICE と同様、同じ医薬品であっても複数の適 応がある場合には、適応症ごとにデータを提出し、 収載の可否が判断される。そのため、ある医薬品 においてひとつのレビューで非給付と決定されて も、他の適応では給付が認められるケースや、い ったん非給付とされた適応について再申請を行 い、最終的に給付が認められた例も多く存在する。

図1には、PBACにおけるレビューの結果を示 す。結果は、給付、非給付、保留があり、給付の 割合は各年異なるものの最近5年間でみると62% 程度であり、申請された約4割のレビューにおい て非給付という判断が下されている。あわせて、 非給付とされたレビューに着目し、どのような要 因が非給付という判断につながったかを検証し た。PBACにて公開されているレビューには、非 給付と判断した理由が記載されている。この記載 内容から、非給付になった理由を"有効性"、"比 較対照薬"、"安全性"、"価格"、"費用対効果の不 確実性(変動幅が大きい)"、"費用対効果が悪い (増分費用効果比 ICER 値が大きい)"の問題に分 類し、要因分析を行った。申請書によっては、複 数の項目が指摘されることで非給付と判断されて いるケースも多く存在した。又、"価格"に関する 指摘は、既存薬と比較して高すぎる、治療に必要 な付加的費用の組み入れ可否に対する批判等があ り、価格単独に対する言及を対象とした。本分析 では、1,485件の申請件数のレビュー内容を確認 し、そのうち非給付と判断された474件について更 なる解析をおこなった。

結果を図2に示す。非給付となった理由として 多くみられたのは、相対的"有効性"の問題と"費 用対効果評価の不確実性"であった。すなわち、 「費用対効果が悪い」こと以外の要素も、PBACに おける非給付の判断に大きく寄与していることが 明らかになった。

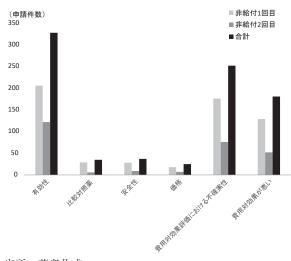
"有効性"に関する指摘の多くが、既存薬を比較 対照とした臨床データの不足を問題視していた。 HTA のプロセスにおいて、対照薬の効果と費用 のデータを用い ICER (増分費用効果比) を算出

図 1 PBAC におけるレビュー結果



出所:著者作成

非給付レビューの要因分析結果



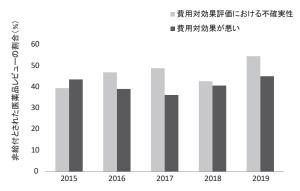
出所:著者作成

するが、治験時はプラセボとの比較データで解析 されている、重篤な疾患においてはシングルアー ムでの臨床試験が実施されることから、データ不 足が指摘されるケースが多く存在した。

一方で費用対効果の不確実性に関する指摘(変 動幅が大きいことの指摘)では、対象となる患者 集団における臨床的有用性を示すデータの不確実 性(アウトカムデータやデータソースの選択基準 の問題)、解析法に関する不確実性(どの分析モデ ルを用いるかなど)が主に指摘されていた。

後者の不確実性の問題は、過去5年間のデータ を見た場合、一貫して40%を超える割合を占め、 近年では「費用対効果が悪い」を上回っている (図3)。

図3 費用対効果を理由に非給付となった医薬品 レビューの割合



出所:著者作成

以上の結果から、HTA 機関において非給付と 判断された医薬品は、費用対効果が悪いという結 果のみならず上記に挙げたようなそれ以外の理由 も影響していることが明らかになった。

4. 相対的有効性、不確実性への対応と示唆

近年、医薬品の対象疾患がより細分化され、バ イオマーカーなどにより選択された癌や、希少疾 患の治療薬が増えていることから、今後 HTA に て相対的有効性や不確実性の指摘を受けることは 多くなることが予想される。これらの医薬品の臨 床試験は、患者数が少ないことから、シングルアー ムで実施されることや、Active comparator なし のプラセボ対照で行われることが多い。薬事承認 が絶対的有用性、すなわち無治療やプラセボと比 較した有効性と安全性の観点から行われた場合で も、給付の可否につながる費用対効果評価の場面 では、相対的(追加的)有用性のデータの不足等 により有効性やそれに伴う不確実性の問題が指摘 される。

上記課題についてどのような議論がされている かを紹介する。まず、臨床試験の評価機関とHTA 機関(オーストラリアの場合 TGA と PBAC に相 当)の判断や評価軸のギャップの存在は、複数の 国で指摘されており、両機関の連携等が課題とし て挙げられている2)、3)。また、早期の段階から HTA の不確実性を低減させるような臨床試験の デザイン、分析法を、関連するステークホルダー との対話を通じて検討していくことが今後求めら れる。さらに償還時にManaged entry agreement により上市後の医薬品のリアルワールドエビデン スを用いた再解析やValue-based contractの実施、 英国の Cancer Drugs Funds のように、追加的な データを取得する間は臨時予算によって暫定的に 給付する手法は、アクセス遅延の問題を回避しつ つ不確実性を最小化する取り組みといえ、近年こ のような特別措置が取られるケースも増加してい る。個別化医療にシフトしている世界において、 償還の対応も多様化しており、国際的な見解では、 単一的な方法をとるのは難しいと議論されてい る⁴⁾⁻⁶⁾。

日本においても、医療費の高騰が問題視される 中で各治療の価値をどのように判断するかという 議論が必然的に起きている。一部の医薬品に対し て、価格調整を目的に費用対効果評価が実施され ているが、今後も多様化していく治療法に対して、 不確実性を含めてどのように評価していくかとい う課題は、より重要になることを意識していきた い。さらに、医薬品の多面的な価値を評価してい く際にも比較対照薬や解析手法に関する課題が想 定されるため、医薬品のタイプに応じて検討して いく必要がある。

²⁾ Health Policy. 2016 Oct;120 (10):1104-1114. doi: 10.1016/j.healthpol.2016.08.006. Epub 2016 Aug 31.

³⁾ Clin Pharmacol Ther. 2020 Aug;108 (2):350-357. doi: 10.1002/cpt.1835. Epub 2020 Apr 20.

⁴⁾ BMJ. 2020 Jan 2;368:l6435. doi: 10.1136/bmj.l6435.

⁵⁾ BMC Health Serv Res. 2018 May 31;18 (1):393. doi: 10.1186/s12913-018-3162-2.

⁶⁾ Orphanet J Rare Dis. 2015 May 3;10:53. doi: 10.1186/s13023-015-0269-y.

医薬品開発パイプラインのモダリティと 適応症に関する調査

医薬産業政策研究所 主任研究員 鍵井英之

1 はじめに

近年、核酸医薬品、遺伝子治療、遺伝子細胞治 療など、新しい創薬モダリティを活用した医薬品 が登場し、これまで治療が困難であった、がんや 遺伝性疾患、直近では新型コロナウイルスなどの 疾患領域で大きなインパクトをもたらしている。

いわゆる新規モダリティと呼ばれる新規技術で は、低分子医薬品や抗体医薬品に比べると、薬物 送達性や製造方法、製造コストなど、それぞれ技 術的進展の余地が多く残されているものの、多様 な疾患・創薬ターゲットに対して複数のモダリテ ィから最適な治療薬を戦略的にデザインできる時 代が到来したといっても過言ではない。

そこで今回、現在の医薬品で主要なモダリティ である低分子医薬品および抗体医薬品に加え、近 年実用化が進んでいる比較的新しいモダリティと して核酸医薬品、遺伝子治療、腫瘍溶解性ウイル ス1)、遺伝子細胞治療、細胞治療に着目し、それ らの開発パイプラインがどのような適応疾患を対 象としているか調査した。

2 調査方法

医薬品データベース EvaluatePharma の収載情 報(2021年1月16日出力)より、新有効成分含有 医薬品(New Molecular Entity: NME²⁾)を対象 とした。臨床開発段階(P1~P3)および申請段階 における開発品に関して、モダリティ別に疾患領 域に関する情報を抽出した。既に上市・承認され ている NME が適応追加のために臨床開発が実施 されている場合、その NME についても分析対象 としたが、既に承認されている適応については、 分析対象外とした。

①適応疾患領域の分類・階層および該当成分数の カウント

EvaluatePharma では、医薬品および開発品の 適応疾患を、Indication level 1 (20疾患領域)、同 2 (98疾患区分)、同3 (946適応症) の3段階で 階層化しており、本稿では level 1~3をそれぞれ "大分類"、"中分類"、"小分類"とした。

1成分が複数の疾患領域で開発されている場 合、分析対象とする階層において、それぞれ重複 してカウントしている。例えば大分類の分析を行 う場合、1つの成分が"がん"および"免疫"領 域で開発されていればそれぞれを1とカウントし ているが、中分類である"固形がん"、"血液がん"、 あるいは小分類である"肺がん"、"大腸がん"な どに複数の適応があったとしても重複してカウン トしていない。

②モダリティ分類

本調査のモダリティ分類は、EvalluatePharma の分類と以下のように対応している3)。

低分子薬品:Small molecule chemistry

¹⁾ 腫瘍溶解性ウイルスは遺伝子治療に含める場合もあるが、本稿では適応疾患をより明確に分析するために個別のモダリ ティとして扱った。

²⁾ EvaluatePharmaの区分に基づく。New Chemical Entity (NCE) およびBiologics License Applications (BLA) を含む。

³⁾ Evaluate では、他に Bioengineered vaccine、Protein extract、Plasma-derived therapy、Recombinant product などの 分類があるが、本調査では分析の対象としていない。

抗体医薬品:Monoclonal antibody, Monoclonal

antibody (Conjugated)

核酸医薬品: DNA & RNA therapeutics (mRNA

ワクチンや DNA ワクチンは含まな

遺伝子治療: Gene therapy, Genome editing

腫瘍溶解性ウイルス: Oncolytic virus

遺伝子細胞治療:Gene-modified cell therapy⁴⁾

細胞治療: Cell Therapy⁵⁾

③対象となる有効成分(品目)数

本調査で対象とする開発段階と有効成分(品 目)数は表1の通りである。1成分において複数 の適応や開発段階で開発が進められている場合、 最も進んだ開発段階でカウントしている。本調査 においては、P1~申請段階をまとめて"開発段階" として扱っている。

3 結果

3.1 モダリティ別・開発品の適応疾患領域(大分

表1の開発品について、適応疾患領域の内訳を 図1に、モダリティ別の内訳を図2に示す。全体 ではがん領域の開発品が最も多く、これは、個別 のモダリティにおいても同様であった。

特に抗体医薬品、遺伝子細胞治療では、開発品 の60%以上でがん領域での開発が進められてい る。遺伝子細胞治療は、CAR-T 細胞療法や T 細 胞受容体(TCR)療法など、がんをターゲットと した開発品が中心である。また、腫瘍溶解性ウイ ルスはその特性上、がん領域の適応が100%であ る。

遺伝子治療では、がんで開発されている有効成 分の割合は遺伝子治療全体の20%以下であり、他 のモダリティと比べると低く、"その他"(主には ライソゾーム病が含まれる。Appendix 1参照)、 "感覚器"の開発数が多い。特定の遺伝子や遺伝性 疾患をターゲットとすることで、幅広い疾患領域

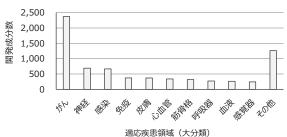
表 1 本調査で対象とする有効成分数

モダリティ		開発段階				
T9971	P1	P2	Р3	申請	合計	
低分子	1,443	1,465	532	100	3,540	
抗体	501	366	139	27	1,033	
核酸	63	68	23	2	156	
遺伝子治療	48	131	25	2	206	
腫瘍溶解性ウイルス	15	26	4	0	45	
遺伝子細胞	130	63	10	4	207	
細胞治療	110	148	25	3	286	
組換タンパク	89	134	62	11	296	
その他	86	111	49	4	250	

出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

注) 有効成分1件に対し、すべての適応で最も進んだ開発 段階を1件カウントしている。

開発品(全体)の適応疾患領域 図 1



注) その他を除く上位10領域を抽出した 出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

での開発が進んでいると考えられる。

3.2 既承認の低分子医薬品および抗体医薬品の 適応疾患領域(大分類)

低分子医薬品、抗体医薬品については、多くの 医薬品が上市されていることから、これら2つの モダリティについて、既承認 (承認および上市) 品目の適応疾患領域を調査した(図3)。

低分子医薬品では、感染症領域や心血管(循環 器)領域の割合が高くなっている。既承認の抗体 医薬品では、がんの適応を有する品目の割合は開 発品(図2、63.1%)と比べるとやや低く44.9%で あり、"免疫"、"筋骨格"などの割合が高くなって いる。

⁴⁾ CAR-T 療法や TCR 療法など、患者から取り出した細胞を ex-vivo で遺伝子修飾を行い、再度患者に投与するもの。

⁵⁾ 間葉系幹細胞や細胞シートなど、遺伝子改変をしていない細胞を用いた治療。

図2 モダリティ別・開発品の適応疾患領域

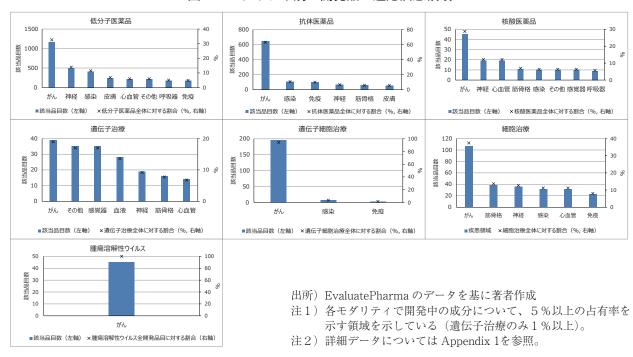
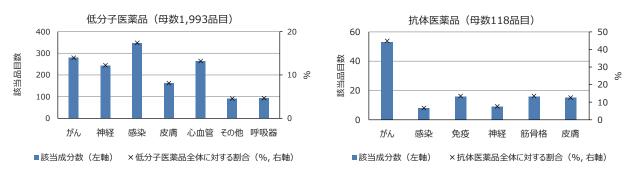


図3 低分子医薬品および抗体医薬品 上市品目の適応疾患領域



注) 各モダリティの対象疾患領域の並びは図1と対応している。 出所)EvaluatePharma のデータを基に著者作成

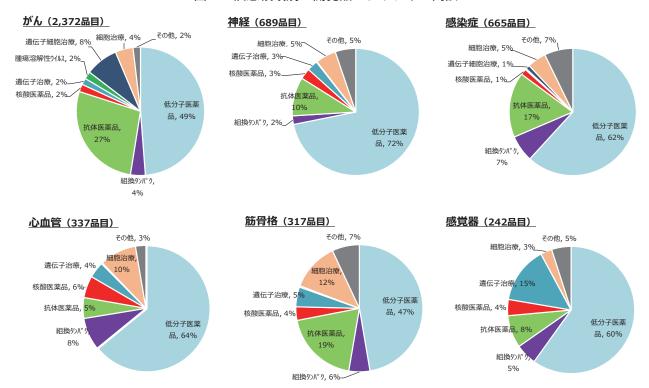
3.3 疾患領域(大分類)から見た開発品のモダリ ティ内訳

次に、疾患領域別に、開発品のモダリティ分類 の内訳を示す。ここでは、開発品目数が上位の3 領域(がん、神経、感染症)に加え、新規モダリ ティとして核酸医薬品、細胞治療、遺伝子治療の 割合がもっとも高い疾患領域としてそれぞれ、心 血管、筋骨格、感覚器領域を示す。(図4、他の疾 患領域については Appendix1参照)

がん領域では、低分子医薬品は概ね半数であり、 他の領域と比較すると抗体医薬品や遺伝子細胞治 療などバイオ医薬品の割合が高くなっている。神

経領域では、低分子医薬品の割合が高いが、これ は中枢神経系への薬物送達性の点で優れているこ とが理由の一つと考えられる。また、心血管領域 では、核酸医薬品の占める割合が他の領域に比べ て高いが、疾患ターゲットや作用メカニズムなど は他のモダリティと異なる(3.4項にて後述)。細 胞治療は組織の再生などの点から筋骨格領域、遺 伝子治療では局所投与が可能な感覚器領域など、 適応疾患領域によって、開発されている個々のモ ダリティの占める割合が異なることが確認され た。

図 4 疾患領域別 開発品モダリティの内訳



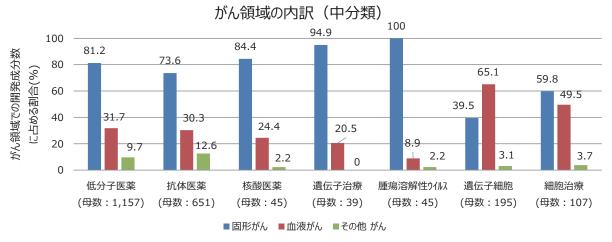
- 注1) 0.5%未満のモダリティは表示していない。
- 注2) Appendix 1のデータを基に作成
- 出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

3.4 モダリティ別・開発品の疾患領域(中分類、 小分類)

中分類

いずれのモダリティでもがん領域に適応を有す る成分の割合が多いが、その内訳(中分類)は図5 の通りである。低分子医薬品、抗体医薬品、核酸 医薬品、遺伝子治療、腫瘍溶解性ウイルスでは固 形がん、遺伝子細胞治療では血液がんの割合が大 きい。細胞治療は概ね同程度である。がん以外の 疾患領域(中分類)については、Appendix2にデー タを掲載した。

図 5 モダリティ別 がん領域(中分類)の内訳



出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

小分類

モダリティ毎に、開発品目数が多い適応疾患(小 分類)を、"がん領域"および"がん領域以外"そ では、乳がん、非小細胞肺がん、非ホジキンリン

れぞれについて表2に示す。

がん領域では、個別の疾患名が確認できるもの

表2 モダリティ別 開発適応疾患 (小分類)

がん領域		がん領域以外		
適応疾患(小分類)	品目数	適応疾患(小分類)	大分類	品目数
低分子医薬品	111111111111111111111111111111111111111	72/10///OBI (1/77/9//	7 (73 79)	111 11 30
1. 固形がん (その他、不明)	540	1. COVID-19治療	感染症	117
2. 乳がん	167	2. 糖尿病、2型	糖尿病	97
3. 非小細胞肺がん (NSCLC)	165	3. パーキンソン病	神経	87
4. 非ホジキンリンパ腫 (NHL)	145	4. 非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)	肝疾患	87
5. 急性骨髓性白血病 (AML)	128	5. アルツハイマー病	神経	85
抗体医薬品		, , , , , , , , , , , , , , , , , , , ,	117-4	
1. 固形がん(その他、不明)	338	1. COVID-19治療	感染症	62
2. 非ホジキンリンパ腫 (NHL)	103	2. 免疫関連疾患(その他)	免疫	30
3. 非小細胞肺がん (NSCLC)	92	3. 関節炎、関節リウマチ	筋骨格	27
4. がん(その他、不明)	67	4. アルツハイマー病	神経	23
5. 乳がん	61	5. 全身性エリテマトーデス (SLE)	免疫	23
5. 結腸直腸がん	61	6. 湿疹/皮膚炎	皮膚	20
核酸医薬品				
1. 固形がん(その他、不明)	17	1. 脂質異常症	心血管	9
2. 黒色腫	12	2. B型肝炎治療	感染症	8
3. 膵臓がん	7	3. デュシェンヌ型筋ジストロフィー	筋骨格	6
3. 肝細胞がん、肝がん	7	3. 心血管 (その他、不明)	心血管	6
3. 頭頸部がん	7	5. ハンチントン病	神経	5
6. 結腸直腸がん	6	5. 眼疾患(その他、不明)	感覚器	5
6. 乳がん	6	(4件以下)		
遺伝子治療				
1. 固形がん(その他、不明)	15	1. 眼疾患(その他、不明)	感覚器	12
2. 頭頸部がん	9	2. 網膜色素変性症	感覚器	10
3. 肝細胞がん、肝がん	7	3. パーキンソン病	神経	9
4. 多形性膠芽腫	5	4. レーバー先天性黒内障	感覚器	7
5. 卵巣がん	4	4. 鎌状赤血球症	血液	7
5. 黒色腫	4	6. 表皮水疱症 (EB)	皮膚	6
遺伝子細胞治療				
1. 非ホジキンリンパ腫 (NHL)	57	1. CMV 感染症	感染症	3
2. 多発性骨髄腫	36	2. ウイルス感染症(その他、不明)	感染症	2
3.急性リンパ性白血病(ALL)	30	3. 移植片対宿主病(GvHD)	免疫	2
4. 固形がん(その他、不明)	23			
5. 急性骨髄性白血病(AML)	22			
腫瘍溶解性ウイルス				
1. 固形がん(その他、不明)	26			
2. 黒色腫	10			
3. 膀胱がん	8			
4. 乳がん	7			
4. 結腸直腸がん	7			
4. 多形性膠芽腫	7			
細胞治療			D. M. J.	
1. 固形がん (その他、不明)	21	1. COVID-19治療	感染症	26
2. 急性骨髄性白血病 (AML)	20	2. 変形性関節症	筋骨格	15
3. 非ホジキンリンパ腫(NHL)	19	3. 移植片対宿主病(GvHD)	免疫	11
4. 非小細胞肺がん(NSCLC)	15	4. 糖尿病、1型	糖尿病	9
4. 黒色腫	15	5. 末梢血管疾患 (PVD)	心血管	8
6. 多発性骨髄腫	14	5. 心筋梗塞、急性(AMI)	心血管	8
7. 血液がん (その他、不明)	12	5. 骨の修復・再生	筋骨格	8
(10件以下)		5. 脳卒中、急性	心血管	8

注)がん領域およびそれ以外の領域について、開発品目数上位5位(5位が複数ある場合は追加)を抽出した。

出所)EvaluatePharma のデータを基に著者作成

パ腫、急性骨髄性白血病の開発品が多いが、核酸 医薬品や腫瘍溶解性ウイルス、細胞治療では、黒 色腫、頭頚部がんといった低分子医薬品や抗体医 薬品とは異なる疾患が見られる。

がん領域以外の疾患では、低分子医薬品、抗体 医薬品に共通するものとして COVID-19、パーキ ンソン病やアルツハイマーなどの神経領域、抗体 医薬品では、リウマチや全身性エリテマトーデス など自己免疫疾患が含まれる。なお、COVID-19 に関しては、既承認薬からのドラッグリポジショ ニングが多く含まれている。

核酸医薬品では、"脂質異常症"が最も多いが、 これは脂質代謝に関連した特定の遺伝子 (ApoC3、ANGPTL3、PCSK9⁶⁾など)を標的とし たRNA干渉(RNAi)もしくはアンチセンス核酸 であり、ターゲット分子は低分子医薬品とは異な るが、抗体医薬品とは概ね共通している (表3)。 他にもB型肝炎など、肝臓に関連した疾患が上位 に見られるが、これは核酸医薬品(アンチセンス 核酸)が肝臓に到達しやすいという薬剤送達上の 性質7) が影響していると考えられる。遺伝子治療 では、眼科関連の疾患が多いが、これは局所投与 することで薬物送達性や全身性の副作用リスクを 軽減できること、投与量も全身投与に比較して少 量で済むなど遺伝子治療のターゲットとして適し ていることが挙げられる。細胞治療では COVID-19の開発品が多いが、コロナウイルスそ のものをターゲットとしたものではなく、サイト カインストームに対する免疫抑制作用を期待した 間葉系幹細胞 (MSC) の活用が中心である (表4)。

4 まとめと考察

本稿では現在開発中のパイプラインについて、 創薬モダリティと適応症に着目して調査した。

いずれのモダリティでもがん領域が最も多かっ たが、その理由としては、アンメットメディカル ニーズが大きいことに加え、固形がんや血液がん

表3 小分類"脂質異常症"における薬剤標的

よ八緒"昭所田舎売")っわけつ	討	3当品目	数
小分類 "脂質異常症" における · 薬剤標的	低分子 医薬品	0,011	核酸 医薬品
Acetyl CoA carboxylase (ACC)	1		
Angiopoietin like (ANGPTL)	1	1	2
Angiotensin II receptor	1		
Angiotensin-converting-enzyme (ACE)	1		
Apolipoprotein		1	4
Cholesteryl ester transfer protein (CETP)	3		
Fibroblast growth factor (FGF)	1		
Microsomal triglyceride transfer protein (MTP)	1		
Niemann-Pick C1-like (NPC1L1) protein	2		
Peroxisome proliferator-activated receptor (PPAR)	3		
Proprotein convertase subtilisin/kexin (PCSK)	1	3	2
Sterol O-acyltransferase	2		
Thyroid hormone receptor	1		
unspecified	9		1
総計	27	5	9

出所)EvaluatePharma のデータを基に著者作成

細胞治療の小分類 "COVID-19" における 表 4 作用機序

小分類 "COVID-19" における作用機序	細胞治療の 該当品目数
Apoptotic cell therapy	1
Cardiac stem cell therapy	1
CD34 cell therapy	1
Mesenchymal stem cell therapy	11
Natural killer (NK) cell therapy	3
Natural killer T-cell (NKT) stimulant	1
Progenitor cell therapy	1
Regulatory T-cell (Treg) therapy	1
Regulatory T-cell stimulant	1
SARS-CoV-2 inhibitor	1
Stem cell stimulant	1
Stromal cell therapy	1
Unclassified	3
総計	27

注) 1件の重複を含む

出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

⁶⁾ ApoC3 (アポリポ蛋白 C3)、PCSK9 (Proprotein convertase subtilisin/kexin type 9)、ANGPTL3 (Angiopoietin-Like

⁷⁾ 井上貴雄「核酸医薬品の開発動向と規制整備の現状」 PHARM TECH JAPAN Vol.35 No.13 2019 p.7-11

など領域自体の幅が広い、上市品からの効能追加 の余地が他の疾患領域に比べて大きい、新たな標 的分子の発見などが考えられる。

現在の医薬品の市場全体で見ると、抗体医薬品 をはじめとするバイオ医薬品の割合が増加してい るが、疾患領域によって、開発パイプラインのモ ダリティは異なる。低分子医薬品や抗体医薬品な ど従来のモダリティではアプローチが困難な、ア ンメットニーズの高い難治性のがんや遺伝性疾 患、組織再生などの領域では新規モダリティの活 用比率が高い。また、COVID-19を対象とした開 発品も多く、例えば細胞治療では、286品目中26品 目 (9.1%)、抗体薬品では1,033品目中62品目 (6.0 %)が相当する⁸⁾。このように新型コロナウイル スのパンデミックが医薬品開発にも大きな影響を 与えていることがわかる。

低分子医薬品と抗体医薬品では、既承認品目の

適応疾患領域についても調査した。既承認品目で は、がん領域の割合が開発品に比べると低く、ま た低分子医薬品で感染症領域の割合が高いなどの 違いが見られた。

上市品と開発品の適応疾患領域の変化は、新た な治療薬が上市されたことによるアンメットメデ ィカルニーズの変化、特定の領域における創薬 ターゲットの枯渇、また抗菌薬の領域では事業予 見性の課題がある9)など、複数の要因が考えられ る。一方、新規モダリティでは、技術的に解決さ れていない課題も多く、患者一人当たりの開発・ 製造費用が高額となる傾向があり、それ故にター ゲットにできる疾患が限られていることも想像で きる。今後、このような課題が解決されることで、 各モダリティの適応疾患が新たな領域に広がって いくことを期待したい。

おわり

Appendix 1 モダリティ別 開発品 適応疾患領域(大分類)

モダリティ	疾患領域									
	がん	神経	感染	免疫	皮膚	心血管	その他	筋骨格	呼吸器	血液
低分子医薬品	1,157	495	411	177	246	216	214	150	182	130
抗体医薬品	651	68	110	103	58	18	19	61	31	37
核酸医薬品	45	19	10	6	6	19	10	11	9	6
遺伝子治療	39	19	2	10	9	14	35	16	0	28
腫瘍溶解性ウイルス	45	0	0	0	0	0	0	0	0	0
遺伝子細胞治療	195	1	7	3	1	1	0	1	0	1
細胞治療	107	36	32	23	15	32	5	39	11	9
組換タンパク	89	15	45	32	12	28	27	17	17	40
その他	44	36	48	17	22	9	12	22	20	11
総計	2,372	689	665	371	369	337	322	317	270	262

モダリティ	疾患領域									
	感覚器	消化器	糖尿病	肝疾患	精神科	尿路	生殖器	HIV関連	ホルモン	手術
低分子医薬品	145	158	152	138	156	94	70	39	19	13
抗体医薬品	20	38	21	10	0	12	1	22	4	1
核酸医薬品	10	3	5	6	0	7	1	1	2	4
遺伝子治療	35	1	3	3	0	1	0	3	0	1
腫瘍溶解性ウイルス	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
遺伝子細胞治療	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1
細胞治療	7	9	11	8	1	5	3	1	0	3
組換タンパク	13	16	24	7	0	15	7	3	5	2
その他	12	13	12	8	13	9	6	3	0	1
総計	242	239	228	180	170	143	88	73	30	26

出所) EvaluatePharma のデータを基に著者作成

⁸⁾ 表1のモダリティ合計および2の COVID-19該当数より算出。モダリティ別の COIVD-19の開発品目数は Appendix3を

⁹⁾ 舘田一博「抗菌薬開発停滞の打破へ向けて」日本内科学会雑誌 Vol.102 No11 2013 p.2908-2914

Appendix 2 モダリティ別 適応疾患分類(中分類)

低分子医薬品

抗体医薬品

核酸医薬品

-		
大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	占める割合
がん	1157	100%
固形がん	939	81.2%
血液がん	367	31.7%
その他	112	9.7%
神経	495	100%
その他	136	27.5%
神経変性疾患	127	25.7%
疼痛	105	21.2%
認知症	100	20.2%
睡眠障害	35	7.1%
発作/痙攣	32	6.5%
多発性硬化症	30	6.1%
頭痛	16	3.2%
末梢神経障害	12	2.4%
嘔吐	6	1.2%
感染症	411	100%
呼吸器	175	42.6%
ウイルス感染	99	24.1%
細菌感染	99	24.1%
真菌感染	27	6.6%
寄生虫感染	25	6.1%
生殖器/尿路	24	5.8%

大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	占める割合
がん	651	100%
固形がん	479	73.6%
血液がん	197	30.3%
その他	82	12.6%
感染症	110	100%
呼吸器	70	63.6%
ウイルス感染	29	26.4%
細菌感染	8	7.3%
生殖器/尿路	3	2.7%
真菌感染	1	0.9%
免疫	103	100%
自己免疫疾患	57	55.3%
その他	39	37.9%
移植	27	26.2%

大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	占める割合
がん	45	100%
固形がん	38	84%
血液がん	11	24%
その他	1	2%
神経	19	100%
神経変性疾患	11	58%
その他	3	16%
疼痛	2	11%
頭痛	1	5%
発作/痙攣	1	5%
認知症	1	5%
多発性硬化症	1	5%
循環器	19	100%
心循環疾患一般	16	84%
虚血性心疾患	2	11%
脳卒中	1	5%
	1	5%

遺伝子治療

大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	占める割合
がん	39	100%
固形がん	37	95%
血液がん	8	21%
その他	35	100%
ライソゾーム病	27	77%
代謝性疾患	8	23%
感覚器	35	100%
眼関連	34	97%
耳関連	1	3%
血液関連	28	100%
血球関連	16	57%
血液凝固関連	12	43%

腫瘍溶解性ウイルス

大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	対する割合
がん	45	100%
固形がん	45	100.0%
血液がん	4	8.9%
その他	1	2.2%

細胞治療

大分類	該当	大分類に
中分類	成分数	占める割合
がん	107	100%
固形がん	64	59.8%
血液がん	53	49.5%
その他	4	3.7%
筋・骨格系	39	100%
関節炎	21	54%
その他	9	23%
骨	9	23%
神経	36	100%
その他	15	42%
神経変性疾患	13	36%
認知症	6	17%
疼痛	5	14%
多発性硬化症	4	11%
末梢神経障害	1	3%
感染症	32	100%
呼吸器	28	88%
ウイルス感染	4	13%
細菌感染	1	3%
心循環器	32	100%
虚血性心疾患	14	44%
脳卒中	12	38%
末梢血管障害	9	28%
心循環疾患一般	5	16%

- 注1) 各モダリティで開発中の成分について、10%以上の占有率(遺伝子 治療のみ1%以上)を示す疾患領域(大分類)について、その疾患 区分(中分類)の内訳を示している。
- 出所)EvaluatePharma のデータを基に著者作成

Appendix 3 モダリティ別 COVID-19 開発品目数

モダリティ	COVID-19関:	連開発品目数	(1)(2)該当	開発品目総数	総数に対する 割合 (%)	
	治療目的(1)	予防目的(2)	品目数*	用光阳日形奴		
低分子医薬品	117	6	120	3,540	3.4%	
抗体医薬品	62	4	62	1,033	6.0%	
核酸医薬品	2	0	2	156	1.3%	
遺伝子治療	1	0	1	206	0.5%	
遺伝子細胞治療	1	0	1	207	0.5%	
細胞治療	26	1	26	286	9.1%	
組換タンパク	26	1	27	296	9.1%	
ワクチン	2	58	59	600	9.8%	
その他	19	3	20	250	8.0%	

^{*}治療および予防共に該当する成分があるため合計とはならない。

出所)EvaluatePharma のデータを基に著者作成

がんサバイバーにおける疾病との共生

医薬産業政策研究所 統括研究員 伊藤

1. はじめに

政策研ニュース前号(No.61)において、筆者は 次世代ヘルスケアの現状をヘルスケアサービス範 囲の拡大の観点より俯瞰した。健康寿命延伸には、 「未病・予防」「診断・治療」が重要であることは 論を待たないが、疾病に罹患しても可能な限り制 限を受けずに生活していく、即ち、疾病との「共 生」も同様に望まれる。しかし、その取り組みが、 「未病・予防」「診断・治療」より遅れている傾向 が見て取れた1)。そこで、本稿においては、「共生」 の取り組みが比較的先行しているがんサバイバー の状況を概観し、がんとの「共生」における製薬 企業の貢献につき考察することを目的に研究を進 めた。

2. がんサバイバーとは

がんサバイバーとは、"survivor" との語感より がんに打ち克った人と解釈しがちであるが、現在 は、「がんが治癒した人だけを意味するのではな く、がんの診断を受けた時から死を迎えるまでの 全ての段階にある人」と定義されている20。つま りがんサバイバーは「生存者」というより「がん 経験者」という方が的確であるとされている30。ま た、がんサバイバーシップとは、「診断時から命の 終わりまで、がんとともに自分らしく生きるこ

図 1 相対5年生存率・生存数の推移



出典:全国がんセンター協議会の生存率共同調査(2020年

12月集計) による4)

出所:上記調査から医薬産業政策研究所にて作成

と」2)を意味している。

がん治療の発展・医療従事者等の尽力により、 がんサバイバーの生存率、生存数は90年代後半 より増大してきた。(図1)全がん協生存率共同調 査4)によると、相対5年生存率は70%に近づきつ つあり、がんが不治の病ではなく慢性疾患として 考えられるような時代となってきている³⁾。

国立がん研究センターの将来推計⁵⁾では、2015 年から2039年までがん罹患数は一貫して増加する とされている。(図2)

また、平成29年全国がん登録6)では、20~69歳 の就労層の罹患数割合は40.6%であり、就労可能

¹⁾ 医薬産業政策研究所 「本邦における次世代ヘルスケアの現状」政策研ニュース No.61 (2020年11月)

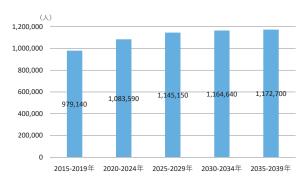
²⁾ 国立がんセンターがん対策情報センター がん専門相談員のための学習の手引き〜実践に役立つエッセンス〜(第3版) https://ganjoho.jp/data/hospital/consultation/files/gakushu_guide03.pdf

³⁾ 実践がんサバイバーシップ 日野原重明 監修 医学書院

⁴⁾ 全国がんセンター協議会 生存率共同調査 (2020年12月集計) https://kapweb.chiba-cancer-registry.org

⁵⁾ 国立がん研究センター 全国がん罹患数・死亡数・有病数の将来推計データ https://ganjoho.jp/reg_stat/statistics/dl/ index.html

図2 全国がん罹患数 将来推計



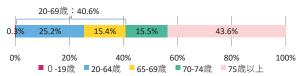
出典:平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)(一般) 日本人におけるがんの原因・寄与度:最新推計と将 来予測

> 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登 録・統計」5)

出所:上記データより医薬産業政策研究所にて作成

な罹患者も少なくないと予想される。(図3)

図3 年齢階級別がん罹患数割合(平成29年)

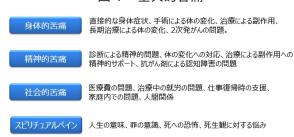


出所:平成29年 全国がん登録 罹患数・率 報告6)表2年 齢階級別罹患数から医薬産業政策研究所にて作成

3. がんサバイバーの抱える問題

がんとの共生には個人差はあるが苦痛が伴う。 がんサバイバーが体験する苦痛は全人的苦痛と呼 ばれ、図4のように4つに類別される2)。

全人的苦痛 図 4

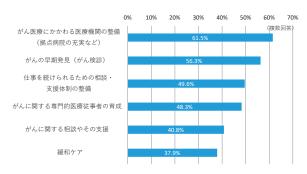


出所:がん専門相談員のための学習の手引き(第3版)2)、 実践がんサバイバーシップ3)より医薬産業政策研 究所にて作成

がんサバイバーの精神面・身体面・社会面・ス ピリチュアル面は互いに影響しあっており、個別 の苦痛に目を向けるのではなく、4つの苦痛を総 合的に理解することが求められる。

内閣府政府広報室が平成28年11月に実施したが ん対策に関する世論調査7)(図5)において、政府 への要望が示されているが、医療機関の整備、早 期発見に並び、就労支援や相談支援、緩和ケアな ど種々の全人的苦痛への対応を求めるものが含ま れている。

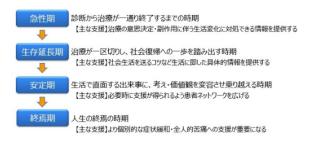
がん対策に関する政府への要望(上位6項目) 図5



出所:「がん対策に関する世論調査」の概要7)より上位6 項目を抜粋

がんサバイバーがたどる過程は、がんと診断さ れた時より死を迎えるまでに4つの時期があると されている2)。(図6)各々の時期において、表出 する苦痛は変遷が見られるため、時期を考慮した 支援が求められる。

がんサバイバーが辿る4時期と主な支援 図6



出所:がん専門相談員のための学習の手引き(第3版)2) より医薬産業政策研究所にて作成

- 6) 厚生労働省 平成29年 全国がん登録 罹患数・率 報告 https://www.mhlw.go.jp/content/10900000/000624853.pdf
- 7)「がん対策に関する世論調査」の概要 平成29年1月 https://survey.gov-online.go.jp/h28/h28-gantaisaku/gairyaku.pdf

4. がんサバイバーへの支援

「がん患者が、がんと共生していくためには、患 者本人ががんと共存していくこと及び患者と社会 が協働・連携していくことが重要である」ことが、 平成30年3月9日に閣議決定されたがん対策推進 基本計画(第3期)において示されている⁸⁾。より 具体的には、①緩和ケアの推進、②相談支援・情報 支援、③就労を含めた社会課題への対策、④社会連 携に基づくがん対策・がん患者支援、⑤ライフス テージに応じたがん対策の5つががんとの共生に 対する取り組みとして取り上げられている90。(図7)

4-1. 緩和ケアの推進

がんサバイバーの全人的苦痛である身体的・精 神的・社会的苦痛等への対応は、総称して「緩和 ケア | と呼ばれる。がん対策基本法第17条におい て、がん患者の療養生活の質の維持向上のために 必要な施策として、「緩和ケアが診断の時から適切 に提供されるようにすること」が明記されている。

緩和ケア提供の中心をなすのは、がん診療連携 拠点病院(以下、拠点病院)である。各都道府県 に概ね1箇所整備される都道府県拠点病院、2次 医療圏に1箇所程度を目安に整備される地域拠点 病院等から構成され、令和2年4月現在402箇所が 指定されている100。

都道府県拠点病院には緩和ケアセンターが、地 域拠点病院には緩和ケアチームが整備され、がん と診断された時からの緩和ケアが推進されてい る。しかし、緩和ケアの質に施設間格差がある等 の指摘があり、実地調査等を通じた緩和ケアの実 態や患者ニーズの把握、緩和ケア研修会による提 供体制の充実の取り組みが進められつつある⁸⁾。

図7 がんとの共生

がんとの共生 緩和ケア がん患者の就労支援・社会課題への対策 現状·課題 現状・課題 ◆離職防止や再就職等の就労支援に、充実した支援が求められている。 ◆患者の苦痛に対して、迅速かつ適切なケアが十分提供されていない。 ◆アピアランスや生殖機能温存等の相談支援、情報提供する体制が構 ◆ 緩和ケア研修会の受講勧奨、受講の利便性の改善、内容の充実が求 築されていない。 められている。 医療機関 企業 0,00 患者・家族 主治医(意見書作成)医療ソーシャルワーカー (相談 産業医産業保健スタッフ からだのつらさがあると答えた患者の割合 34.5% 人事労務担当 (両立支援プラン作成) 気持ちのつらさがあると答えた患者の割合 28.3% 1 治療と仕事面 ラン作成支援 (細粒) (調整) 両立支援コーディネーター 取り組むべき施策 取り組むべき施策 ◆ 苦痛のスクリーニングの診断時からの実施、緩和ケアの提供体制の ◆ がん患者への「トライアングル型サポート体制」の構築 充実 ◆アピアランス支援研修会の開催、生殖機能温存等に関する相談支援、 ◆ 緩和ケア研修会の内容や実施方法の充実 情報提供のあり方の検討 ライフステージに応じたがん対策 相談支援:情報提供 ◆がん相談支援センターが十分に利用されていない。 現状・課題 ◆がんに関する情報が氾濫し、正しい情報取得が困難な場合がある。 ◆小児・AYA世代において、多様なニーズが存在し、成人のがんとは異なる対策が必要とされている。 取り組むべき施策 ◆ 治療早期からのがん相談支援センターの利用促進、体制整備 ◆科学的根拠に基づく情報提供、医業等のウェブサイト監視体制強化 ◆ 高齢者は、認知症を合併することが多いが、がん医療 における意思決定等の基準は定められていない。 取り組むべき施策 社会連携に基づくがん対策・がん患者支援 ◆ 小児・AYA世代のがん経験者の長期フォローアップ 現状・課題 ◆拠点病院等と地域の医療機関等との連携、在宅医療を提供する施設におけるがん医療の質の向上を図る必要がある。 体制の整備 認知症等を合併したがん患者や、看取り期における 取り組むべき施策 ◆ 多職種連携の推進、地域の施設間の調整役を担う者の養成 高齢のがん患者の意思決定支援策の検討

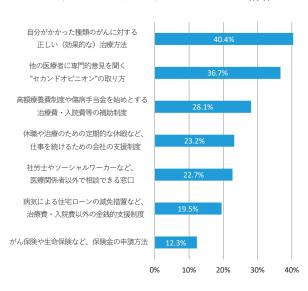
出所:がんとの共生分野の中間評価指標について9)より一部改変

- 8) 厚生労働省 がん対策推進基本計画(第3期)(平成30年3月9日閣議決定) https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10900000-Kenkoukyoku/0000196975.pdf
- 9) 厚生労働省 第1回がんとの共生のあり方に関する検討会 参考資料2 がんとの共生分野の中間評価指標について https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000488431.pdf
- 10) 厚生労働省 がん診療連携拠点病院等一覧表(令和2年4月1日現在) https://www.mhlw.go.jp/content/000616849.pdf

4-2. 相談支援及び情報提供

インターネット等がんに関する情報があふれる 中、がんサバイバーとその家族が、身体的・精神 的・社会的な悩みについて相談し、必要な情報に アクセスできる環境の整備が求められる。国立がん センターがん対策情報センター等が企画した「が んに対する意識調査 | (2018年9月) では、治療に 関する情報に次いで、経済面や就労に関する情報 等の社会的ニーズの不充足が散見された110。(図8)

図8 がん罹患時に必要だったにも関わらず、手 に入らなかった/入りにくかった情報



出所:「がんに対する意識調査」(2018年9月) 11) より一部 改変

相談支援・情報提供の中心的役割を果たすのは やはり拠点病院である。拠点病院の指定要件には 「がん相談支援センター」を設置する旨が示されて いる¹²⁾。同センターは、他院の患者や医療機関か らの相談にも対応している。また、二次医療圏や 都道府県域を越えた相談支援ネットワークが構築 されつつある。一方で、国立がんセンターがん対

策情報センターが令和2年に公表した患者体験調 査報告書(平成30年度調査) 13 においてがん相談 支援センターの認知率は66.4%であったが、その 利用率は14.4%に留まっており、相談支援を必要 とするがんサバイバーが十分利用するに至ってい ないとの指摘がある。治療早期からの利用促進が 望まれる。また、近年は相談内容が多様化してお り、更なる研修の必要性も指摘されている120。

4-3. 就労を含めた社会課題への対策

がんサバイバーが、生きがいを感じながら働き 続けることができる社会づくりは、がんと共生し ていく上で不可欠である。厚生労働省の「平成28 年国民生活基礎調査」を基にした特別集計では、 仕事を持ちながら悪性新生物で通院している者 は、36.5万人であり、平成22年の同調査と比較し て約4万人増加したとされている¹⁴⁾。(図9)

図9 仕事を持ちながら悪性新生物で通院してい る者



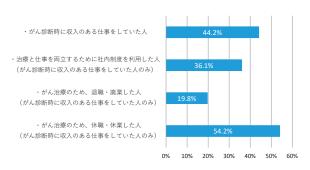
出所:厚生労働省「平成28年国民生活基礎調査」を基に同 省健康局にて特別集計したものを一部改変

前述の全国がん罹患数将来推計(図2)や年齢 別がん罹患率 (平成29年) (図3) を勘案した場 合、就労可能年齢層のがんサバイバーは、今後も

- 11) 国立がん研究センターがん対策情報センター 「がんに対する意識調査」(2018年9月) https://ganjoho.jp/data/public/support/work/white_paper/chosa2018.pdf
- 12) 厚生労働省 第1回がんとの共生のあり方に関する検討会 資料5 がん専門相談員の育成と相談支援の質の向上に向 けた取組について https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000646681.pdf
- 13) 国立がん研究センターがん対策情報センター 患者体験調査報告書 平成30年度調査(令和2年10月) https://www.ncc.go.jp/jp/cis/divisions/health_s/H30_all.pdf
- 14) 厚生労働省 第3回がんとの共生のあり方に関する検討会 資料2 がん患者・経験者の仕事と治療の両立支援の更な
 - https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000559467.pdf

増加が予想される。しかしながら、前述の患者体 験調査報告書(平成30年度調査)においては、が ん診断時に収入のある仕事をしていた人の19.8% が退職・廃業し、54.2%が休職・休業したとの結 果が示されている13)。(図10)

図10 患者体験調査報告書(平成30年度調査)



出所:患者体験調査報告書(平成30年度調査)13)より医薬 産業政策研究所にて作成

また、内閣府政府広報室が令和元年9月に公表 した「がん対策・たばこ対策に関する世論調査」」50 (図11) においては、「2週間に1度程度病院に通 う必要がある場合働き続けられる環境だと思う か」との問いに対し、前回調査(平成28年11月) から改善傾向が見られるものの、依然として約6 割が否定的な回答を示しており(図11)、がんサバ イバーの治療と仕事の両立をサポートする仕組み の一層の充実が求められる。

図11 仕事と治療等の両立について (2週間に1度程度病院に通う必要がある場合働 き続けられる環境だと思うか)



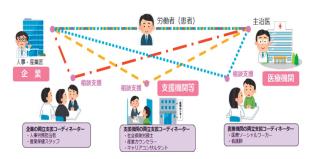
出所:内閣府政府広報室「がん対策・たばこ対策に関する 世論調査」の概要15)より一部改変

具体的な取組としては、がんサバイバーの離職

防止や再就職のための就労支援の充実が特に求め られている。そのためには、(1)治療と仕事を両立 し易い環境、(2)拠点病院等でがんと診断された時 から相談できる環境、(3)離職しても再就職につい て専門的に相談できる環境の各環境整備が必要と されている^{8) 14)}。

(1)治療と仕事を両立し易い環境整備としては、 事業場における治療と仕事の両立支援のためのガ イドラインやマニュアルの作成・普及や両立支援 助成金の活用が挙げられる。また、両立支援コー ディネーターの育成・配置による主治医・企業と のトライアングル型サポート体制の構築等も求め られている14)。

図12 トライアングル型サポートのイメージ



出所:第3回がんとの共生のあり方に関する検討会 資料 2 がん患者・経験者の仕事と治療の両立支援の更 なる推進について14)

(2)拠点病院等でがんと診断された時から相談で きる環境整備としては、がん相談支援センターの 両立支援コーディネーターによる支援、治療と仕 事両立プラン (お役立ちノート) の活用が示され ている。(3)離職しても再就職について専門的に相 談できる環境整備については、ハローワークの専 門相談員(就職支援ナビゲーター)による支援が 検討されている14)。

就労支援については、主治医、企業、拠点病院 等のがん相談支援センター、公共職業安定所など の複数が関与するため、これらのステークホル ダーの連携推進が必要である。

¹⁵⁾ 内閣府政府広報室 「がん対策・たばこ対策に関する世論調査」の概要(令和元年9月) https://survey.gov-online.go.jp/r01/r01-gantaisaku/gairyaku.pdf

※就労以外の社会的な問題について

就労以外の社会的問題としては、がんに対する 「偏見」、がん治療に伴う外観(アピアランス)の 変化、診療早期における生殖機能の温存、また自 殺の問題等がある8)。

がんに対する「偏見」に対しては、民間団体や 患者団体等の協力を得ながら、国民全体の啓発に つながるがんに関する正しい知識を普及させる機 会を設ける取り組みが望まれる8)。

外観(アピアランス)変化は、乳がん女性の苦 痛度上位20位の60%を占め、副作用症状より苦痛 度が高いとの指摘もあり16)、医療従事者を対象と したアピアランス支援研修等の開催が検討されて いる。生殖機能の温存については、的確な時期に 治療選択ができる相談支援や情報提供の在り方の 検討が主に進められている。

自殺の問題については、がんサバイバーの自殺 実態調査を行い、効果的介入のあり方を検討する 取り組みが進みつつある。また、がん相談支援セ ンターを中心とした自殺防止セーフティーネット の必要性も指摘されている⁸⁾。

4-4. 社会連携に基づくがん対策・がん患者支援

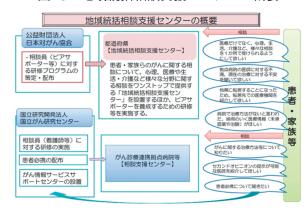
がんサバイバーがいつでもどこに居ても、安心 して生活し、尊厳を持って自分らしく生きること のできる社会を実現するためには、がん対策の社 会連携を強化し、積極的にがんサバイバーやその 家族への支援を実践することが必要である。

在宅緩和ケアは、新型コロナウイルス感染症の 影響もあり、今後利用ニーズの拡大が予想される が、拠点病院等と在宅医療の提供医療機関・薬局・ 訪問看護ステーション等の連携体制の構築が不十 分との指摘がある。また、拠点病院等と地域医療 機関が連携して取り組む相談支援については、取 り組みに地域間格差があるとの指摘がある8)。

こうした状況に対し、切れ目のない医療・ケアの 提供とその質の向上を図るため、かかりつけ医が 早期から関与する体制、在宅医療との連携、患者 フォローアップのあり方の検討が、地域緩和ケアネ ットワーク構築事業として進みつつある「7」。また、 拠点病院等・地域関係者等の連携を図るためには 多職種連携の推進が必要であり、施設間調整を担 う者の在り方や、「地域連携クリティカルパス」の 在り方の見直しについても取り組まれている。

がんサバイバーや家族らのがんに関する相談に ついては、心理、医療や生活・介護など様々な分 野に関する相談をワンストップで提供する体制を 支援することを目的とした地域統括相談支援セン ター(図13)が設置されつつある18)。

図13 地域統括相談支援センターの概要



出所:第1回がんとの共生のあり方に関する検討会 資料 8 がん総合相談に携わる者に対する研修事業の実 施について18

一方で、ピアサポートの養成・普及についても 継続的に取り組む必要性が指摘されている。ピア サポートとは、がん体験者やその家族がピア(仲 間)として体験を共有し、他の患者や家族を支援 することを意味する。がんを経験し、さまざまな 状況を乗り越えてきたピアサポーターや患者会に よる支援は重要とされており、拠点病院の指定要

¹⁶⁾ 厚生労働省 第3回がんとの共生のあり方に関する検討会 https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000559469.pdf

¹⁷⁾ 厚生労働省 第2回がんとの共生のあり方に関する検討会 https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000533486.pdf

¹⁸⁾ 厚生労働省 第1回がんとの共生のあり方に関する検討会 資料8 がん総合相談に携わる者に対する研修事業の実施 について

https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000488429.pdf

資料4 がん治療に伴う患者の外見変化とその支援について

資料2 緩和ケアの提供体制 (拠点病院と地域の緩和ケア)

件には、「医療関係者と患者会等が共同で運営する サポートグループ活動や患者サロンの定期開催等 の患者活動に対する支援」が含まれている120。

また、令和2年3月に公表された「民間団体に よるがん患者等の相談支援に関する実態調査」19) において、調査対象として都道府県より報告され た団体は349団体あり、多くの団体が活動している ことが伺える。がんサバイバーが治療・ケアを受 けながら安心して生活を送るためには、病院外の 相談窓口も選択肢として必要であることや、民間 団体と病院等の関係機関との連携がますます求め られること等が示された。

4-5. ライフステージに応じたがん対策

がんによって、個々のライフステージ毎に異な る身体的、精神的、社会的問題が生じることから、 小児・AYA 世代(思春期・若年成人)や高齢者 では、ライフステージに応じたがん対策が必要で ある。

小児・AYA 世代では、治療による身体的・精 神的苦痛を伴いながら学業を継続するケースがあ る。しかし、そのサポート体制は、必ずしも十分 なものではなく、特に、高校教育の段階において は、取り組みが遅れていることが指摘されている。 このため、小児・AYA 世代のがんサバイバーが 治療を受けながら学業を継続できるよう、入院中・ 療養中の教育支援、退院後の学校・地域での受入 れ体制の整備等の教育環境の更なる整備が求めら れている8)。

また、小児・AYA 世代特有の事象として、晩 期合併症の問題がある。晩期合併症とは、成長や 時間経過に伴い、がんそのものの影響や、薬物療 法・放射線治療などの影響によって生じる合併症 であり、成長発達の異常、中枢神経系の異常、臓 器異常、二次がん等が発現する。治療終了後何十 年も経過してから症状がでることもある²⁰。小児・ AYA 世代は、晩期合併症等により就職困難な場 合があり、就労支援に当たっては、成人とニーズ・ 課題が異なることを踏まえ、医療従事者間の連携 のみならず、ハローワークを含む就労支援の関係 機関や患者団体との連携を強化する必要が指摘さ れている8)。

高齢がんサバイバーでは、入院を機に認知症と 診断される場合や、既往の認知症の症状が悪化す る場合がある。がん医療における意思決定におい ては、一定の基準が必要と考えられるが、現状そ のような基準は定められていない。今後、医療機 関・介護施設が連携し、高齢がんサバイバーや家 族の意思に沿った形での療養生活を支えるための 方策を検討する事が求められる。また、高齢がん サバイバーの意思決定支援に関する診療ガイドラ インを策定・普及させることも必要とされてい る8)。

5. 「がんとの共生」における製薬企業の貢献に関

がんサバイバーの状況を俯瞰してきたが、「がん との共生 | 段階に重点を置き、製薬企業の貢献に ついて考察してみたい。

がん体験者の悩みや負担等に関する実態調査 (静岡県立静岡がんセンター) 21) では、がんによる 症状や治療に伴う副作用・後遺症に関する悩みの うち、薬物療法に関連した悩みの割合が、顕著に 増加しており(2003年:19.2%→2013年:44.3%)、 特に脱毛、末梢神経障害、食欲不振・味覚変化、 外観変化(皮膚・爪の症状)などが増加する一方、 吐き気は減少していることが示されている。また、 近年上市された免疫チェックポイント阻害剤で は、自己免疫疾患様の特有の免疫関連有害事情 (irAE:immune-related Adverse Events) が出現

¹⁹⁾ 令和元年度厚生労働省委託 がん患者等に対する相談推進事業 「民間団体によるがん患者等の相談支援に関する実態調 查」報告(令和2年3月) https://www.mhlw.go.jp/content/000623676.pdf

²⁰⁾ 国立がん研究センター小児がん情報サービス 長期フォローアップと晩期合併症 https://ganjoho.jp/child/support/aftercare/aftercare02.html(2021/01/24参照)

²¹⁾ 静岡県立静岡がんセンター 2013年 がんと向き合った4,054人の声(がん体験者の悩みや負担等に関する実態調査報告書) https://www.scchr.jp/cms/wp-content/uploads/2016/07/2013taikenkoe.pdf (2021/01/24参照)

することが報告されている。多彩な形で発現し、 発現時期を予測することが難しく、これまでのが ん薬物療法の副作用とは異なる管理が必要とされ

がんそのものによる症状やがん治療に伴う副作 用・合併症・後遺症による症状を軽減させるため の予防、治療及びケアは「支持療法」と総称され る。がん治療の副作用に悩む患者が増加する一方、 支持療法の研究開発は十分でなく、支持療法に関 する診療ガイドラインも少なく、標準的治療が確 立していない状況にあるとの指摘がある8)。

医療従事者の努力により、経験的対処としての 支持療法は進歩しつつあるが、科学的エビデンス の集積はまだ十分ではない段階にあると思われ る。この背景には、副作用の重さは数値化が困難 でありエビデンス取得が難しいとの事情があ る²³⁾。がんサバイバーのQOL向上には、この状況 を踏まえて研究を推進し、適切な診療を可能にす る取り組みが求められる。製薬企業も支持療法の エビデンス確立のための臨床研究・臨床試験の実 施や研究支援等での貢献が望ましい。また、将来 的には、より安全性に優れた抗がん剤の開発も期 待される。

「がんとの共生」に対する製薬企業の貢献を考察 した場合、より安全性に優れた治療薬開発や支持 療法のエビデンス確立への貢献が一義的に重要で あると思われるが、がんと共生していくがんサバ イバーの社会的苦痛への貢献も期待される。図8 でがんサバイバーが罹患時に必要だったにも関わ らず手に入らなかった/入りにくかった情報を提 示したが、就労や経済的な支援に関する情報ニー ズが比較的大きかった。製薬企業は各社のホーム ページにおいて患者向けの情報提供を行ってい る。抗がん剤を販売している製薬企業の患者向け 情報提供の状況を調査した。(図14)

結果として、がん種別の疾患・治療情報や支持

図14 製薬企業の患者向けがん関連情報提供の 状況

	がん種別 疾患・ 治療情報	支持療法 情報	経済的 相談支援 情報	就労支援 情報	がんサバ イバー 体験談
A 社	0	0	0	0	0
В社	0	\circ	0	0	0
C社	0	\circ	0	0	0
D社	0	0	0	0	0
E社	0	\circ	0	0	×
F社	0	0	0	0	×
G 社	0	0	0	0	×
H社	0	\circ	×	×	0
I社	0	\circ	×	×	×
J社	0	×	×	×	×
K社	×	×	×	×	×
掲載率	90.9%	81.8%	63.6%	63.6%	45.5%

出所:2018年度医療用医薬品国内売上高上位100品目に含まれる 抗がん剤を販売している製薬企業の HP より医薬産業政 策研究所にて作成

療法情報に比し、経済的相談支援情報や就労支援 情報については掲載が少ない傾向が見て取れた。 患者向け情報発信の在り方は各社のポリシーに依 拠するが、がんサバイバーの情報ニーズを勘案し た情報提供はより望ましい姿と思われる。

情報といった観点から、がんサバイバーのがん との共生を考慮した場合、モバイルアプリケーシ ョン(以下:アプリ)の動向は注目に値する。2020 年11月18日に第一三共株式会社は、国内初の薬事 承認を取得した治療用アプリ (対象疾患:ニコチ ン依存症)を開発した株式会社 CureApp と、「が ん治療を支援するモバイルアプリケーションの共 同開発契約を締結した」旨をプレスリリースした。 がん薬物治療が外来診療で行われるケースが増え ている近年の状況を鑑み、病院外における倦怠感 や疼痛等のがん周辺症状や薬物治療による副作用 の適切な管理が重要との認識の基、患者QOL向上 に寄与するアプリを共同開発する旨が示された。 本アプリは医療機器承認取得を目指すものであ る24)。国内のがん関連アプリは、図15の如く種々の

²²⁾ 公益社団法人日本臨床腫瘍学会編 がん免疫療法ガイドライン 第2版 金原出版

²³⁾ 国立がん研究センターがん対策情報センター 対談 多様な人が働くことで、社会が豊かになる 2017年6月20日 https://special.nikkeibp.co.jp/atclh/work_with_cancer/vol3/index.html (2021/01/24参照)

²⁴⁾ 第一三共株式会社プレスリリース がん治療を支援するモバイルアプリケーション開発提携のおしらせ(2020年11月18日) https://www.daiichisankyo.co.jp/files/news/pressrelease/pdf/202011/20201118_J.pdf (2021/01/24参照)

図15 国内で既提供のがん関連アプリ

	費用	内容
アプリ①	無料	がん関連情報提供
アプリ②	無料	治療情報提供+症状記録(医療者との コミュニケーション補助)
アプリ③	無料	症状記録 (医療者とのコミュニケーション補助)
アプリ④	無料	抗がん剤の服薬管理・症状管理・ 適正使用サポート情報提供
アプリ⑤	無料	副作用モニタリング
アプリ⑥	無料	副作用対策情報提供・レシピ(食事) 情報提供
アプリ⑦	無料	レシピ(食事)情報提供
アプリ⑧	無料	がん経験者コミュニティ情報交換

出所:公表情報より医薬産業政策研究所にて作成、2021年1月 現在

ものが既に存在し、医療者とのコミュニケーション 補助等を目的に症状を記録するものや、副作用モ ニタリングに着目したものもあるが、いずれも無料 で提供されている。そうした中、医療機器承認取 得を目指す第一三共株式会社の動きは、従来と一 線を画するものであり、今後の動向が注目される。

前述の如く、がん関連の患者団体は多数が存在 する。がんサバイバーの求めるニーズや悩みを理 解することは製薬企業にとっても必要であり、患者 団体との協働(交流、支援から共有の課題解決を 目指す活動まで、幅広い範囲を意味する)の機会 が増えてきている。こうした状況を踏まえ、日本製 薬工業協会は、「患者団体との協働に関するガイド ライン」25)、「企業活動と患者団体の関係の透明性 ガイドライン」26 を策定・公開している。患者団体 との協働は、適切に実施されれば、患者、製薬企 業の両者にとって意味が大きい。今後も患者団体 との適切な協働が進展することに期待したい。

製薬会社も社内にがんサバイバーを抱えること はあり得る事象である。1企業として、治療状況等 の情報を踏まえた上で、就業上の措置を講ずるこ とが重要である。社内がんサバイバーが自身の治 療状況・生活環境・勤務情報等を整理することは 難しい場合があり、寄り添った相談支援を充実さ

せていくことが求められる。内閣府政府広報室が 平成28年11月に実施したがん対策に関する世論調 査7)では、働く意欲のあるがん患者が働き続ける ために必要な取り組みとして、「通院のために短時 間勤務が活用できること」、「1時間単位の休暇や 長期の休暇が取れるなど柔軟な休暇制度」「在宅勤 務を取り入れること | 等が上位に挙がっており、柔 軟な勤務制度や休暇制度の導入が必要である。ま た、社員研修等により理解を深め、がんサバイバー が働きやすい社内風土作りも視野に入れるべきと 思われる。こうした取り組みの重要性は製薬企業 にとっても何ら変わりはない。社会的モデルと成り 得るような就労支援体制の社内整備が望まれる。

※「がんとの共生」における製薬企業の貢献

- 1. より安全性に優れた治療薬の開発
- 2. 支持療法のエビデンス確立への貢献
- 3. 患者向け情報提供、提供方法の充実
- 4. 患者団体との適切な協働
- 5. 社会的モデルと成り得るような就労支援 体制の社内整備

6. まとめ

がんサバイバーの俯瞰を通じ、「がんとの共生」 実現のためには、患者が置かれた状況やニーズの 理解、理解に基づく支援体制の構築、多職種連携 による支援の実施、連携を可能にする調整機能が 必要と思われた。また、製薬企業の貢献について は前述の5つが主に考えられると思われた。

健康寿命延伸を目的の一つとする次世代ヘルス ケアでは、「疾病との共生」の視点は大変重要であ る。がんに限らずどのような疾患に罹患しても、生 きがいを持って自分らしく生きていけることは、全 ての患者の願いと思われる。他の疾病についても 研究を進めることで、「疾病との共生」における製 薬企業の貢献について考えていく必要を感じた。

²⁵⁾ 日本製薬工業協会 患者団体との協働に関するガイドライン http://www.jpma.or.jp/patient/tomeisei/kyodo/pdf/ kyodo.pdf

²⁶⁾ 日本製薬工業協会 企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン http://www.jpma.or.jp/about/basis/tomeisei02/ pdf/tomeisei02_gl.pdf

日常生活で取得されるデータの利活用について ~スマートシティにおける取り組み~

医薬産業政策研究所 主任研究員 中塚靖彦

1. はじめに

政策研ニュース No.61ではオープンイノベーシ ョンを起こすための取り組みとしてリビング・ラ ボを紹介した1)。その中で取り上げたリビング・ ラボのネットワーク組織「ENoLL」に登録されて いるリビング・ラボの取り組み領域で一番多い割 合を占めていたものは、高齢者の健康管理や生活 向上のための活動である Health & Wellness (52) %)であったが、33%の割合でスマートシティの 取り組みの一環にも活用もされていることが分か った。スマートシティは実際に世界の様々な地域 で実証実験の取り組みとしてプロジェクトが立ち 上がっている。ICT や IoT 技術の進展によるテレ ワークやテレビ会議による外出機会や移動回数の 減少、AIを活用したビジネス支援などによるオフ ィス環境や立地の変化、自動運転化に伴う移動制 約からの解放による居住地選択の拡大は、コロナ ウイルス感染の影響により一層加速している。そ のような中で、スマートシティの取り組みは都市 の構造、あり方、人の価値観に大きな変化をもた らすのみならず、都市の課題解決へのヒントを与 えてくれるものとなる可能性がある。

本稿では、都市の課題解決を図るスマートシテ ィについて、国内の動向や、医療・ヘルスケアに おける取り組みにを確認した。製薬産業の担える 役割についても考えてみたい。

2. スマートシティとは

国土交通省が2018年に公表した「スマートシテ ィの実現に向けて【中間とりまとめ】」では、ス マートシティは、「都市の抱える諸課題に対して、 ICTなどの新技術を活用しつつ、マネジメント(計 画、整備、管理・運営など)が行われ、全体最適 化が図られる持続可能な都市または地区」と定義 されている20、スマートシティという言葉は、2010 年前後より社会に浸透し始め、当初はエネルギー などの特定の分野に特化した「個別分野特化型| の手法を用いた取り組みが多く行われていた。や がて、近年のICTやデータ活用の潮流を受け、エ ネルギーだけでなく環境や交通、通信、教育、医 療・健康などといった複数の分野に幅広く取り組 む「分野横断型」を謳った ICT・データ活用型ス マートシティが増えてきた。

スマートシティは、「私たちヒトの暮らしが、環 境に配慮しながらもっと良くなるには?」を中心 に考えると想像しやすいだろう。例えば、家が自 分で考え電気量をコントロールし自家発電してく れれば、効率的に節電ができ、余った電力を隣の 家に提供することもできる。また、バイタルサイ ンや歩数など、健康に関するデータを取得し、分 析・活用することにより個人のヘルスケア向上に 繋げられることが考えられる。医薬品のサプライ チェーンにおいても自動運転車の活用による輸送 やワクチンなどのシステム在庫管理などにより効

¹⁾ 医薬産業政策研究所、「政策研ニュース No.61 日常生活で取得されるデータの利活用について ~リビング・ラボ (Living Lab) の取り組み~」(2020年11月)

²⁾ 国土交通省、『スマートシティの実現に向けて【中間とりまとめ】』https://www.mlit.go.jp/common/001249774.pdf

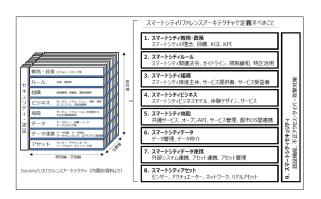
率化することが可能となる。そして、この流れは 多くのビジネスチャンスが生まれるため、経済も 発展していく。このように考えると、決して、エ ネルギー問題解決するだけ、インターネットで繋 がるだけではなく、環境に配慮した暮らしの質の 向上を目指していることが分かる。また、世界中 で取り組まれているスマートシティだが、その取 り組み方には新興国と先進国では状況が異なる。 経済成長が著しい中国などの新興国では、急激な 都市の拡大に対応し、新しく都市を形成するとい う「次世代都市プロジェクト」がメインであり、 日本や欧米のような先進国では、基礎インフラは 整っているが老朽化が課題となっており、建物や 設備の管理・更新をメインとした「再開発都市プ ロジェクト」が進められている。先進国について の課題はそれだけではない。基礎インフラの老朽 化に加え、世界的なエネルギー不足問題、超高齢 化社会、経済の再活性化など山積みであり、スマー トシティはこれらの課題をまとめて解決できると 期待されているため、注目を浴びている。

3. スマートシティのアーキテクチャ

地域課題を解決しつつ、生産性を向上させ、地 域の活力の維持・増強を実現するためには、デジ タルを活用した地域のスマートシティ化が有力な 手段の一つであり、具体的にはデジタル化を通じ たコスト削減や生産性・付加価値の向上による住 民中心の持続可能な地域経営を実現することであ る。これらを全国各地で実現するためにも、スマー トシティ化を容易かつ効率的に推進するためのス マートシティのアーキテクチャ (設計図) が必要 であると考えられている3)。

戦略的イノベーション創造プログラムが2020年 3月31日に発出した「スマートシティ リファレン スアーキテクチャ ホワイトペーパー³⁾」は、ス マートシティのユースケースやあるべき姿に照ら し合わせて各層の構成要素を具体化するととも

図1 スマートシティリファレンスアーキテクチ ャの構築



出所:戦略的イノベーション創造プログラム「スマートシテ ィ リファレンスアーキテクチャ ホワイトペーパー」

に、スマートシティの推進主体を始めとした関連 ステークホルダーがスマートシティサービスを構 築する際に参考とすることができるアーキテクチ ャ(スマートシティリファレンスアーキテクチャ) が定義されている。(図1)

本アーキテクチャは、「Society 5.0」や「Society 5.0」を実現するプラットフォームを参考にシステ ムアプローチの考え方を取り入れ、一つの産業分 野に閉じずに、新たな価値を創造するために、既 存システムも含めたシステム間の連携協調を早く 安く安全に実現するための指針となるリファレン スモデルの「Society 5.0 リファレンスアーキテク チャ⁴⁾」をベースとしている。

スマートシティリファレンスアーキテクチャ は、スマートシティを推進するにあたって重要な 以下の四つの基本コンセプトを踏まえて構築され る。

① 【利用者中心の原則】

全てのスマートシティに関与する者は、常にス マートシティサービスの利用者を意識してス マートシティの取り組みを進める必要があるこ と

② 【都市マネジメントの役割】

スマートシティが持続的に運営され続けるため

³⁾ 戦略的イノベーション創造プログラム、「スマートシティ リファレンスアーキテクチャ ホワイトペーパー」https:// www8.cao.go.jp/cstp/stmain/a-whitepaper1_200331.pdf

⁴⁾ 総合科学技術・イノベーション会議 重要課題専門調査会 システム基盤技術検討会、「Society 5.0リファレンスモデル 検討について」、https://www8.cao.go.jp/cstp/tyousakai/juyoukadai/system/8kai/siryo4.pdf

には地域全体をマネジメントする機能が必要で あること

③ 【データ連携プラットフォームの構築(都市 OS) の役割】

都市オペレーティングシステム (OS) を通じて スマートシティサービスを提供することで、 データやサービスが自由かつ効率的に連携され ること

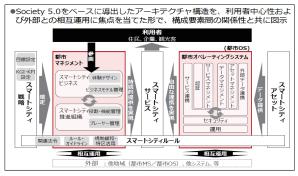
④ 【相互運用の重要性】

日本全体で効率よくスマートシティ化を推進す るためには、他地域や他システムとの相互運用 を効率よく行える必要があること

スマートシティに関与する者、特にスマートシ ティ推進主体は、上記のポイントを意識しつつ、 スマートシティを構成する要素間の関係性を考慮 してスマートシティを推進する必要があり、ス マートシティの構成要素とその関係性の全体像が 図2となる。

利用者はスマートシティ関連の各種サービスを 利用することによりスマートシティ化の恩恵を享 受することとなるが、そのサービスを支える両輪 として、都市マネジメントと都市 OS がある。

図2 スマートシティリファレンスアーキテクチ ャ全体像



出所:戦略的イノベーション創造プログラム 「スマートシテ ィ リファレンスアーキテクチャ ホワイトペーパー」

IT システムである都市 OS だけを導入しても、 地域のスマートシティ全体をマネジメントする機 能(都市マネジメント)が備わっていなければ、 一体感や方向感のあるスマートシティ化の実現は 困難であると考えられるし、反対に適切なタイミ ングで都市OSを導入しなければ、サービスやデー タはバラバラとなり、当該地域内でも日本全体で 考えても効率の良いスマートシティ化は実現しな い。都市OSとして注目が集まっているのは、デー タ管理基盤 [FIWARE] である⁵⁾。 [FIWARE] は EUの次世代インターネット官民連携プログラ ム⁶⁾で開発・実装された基盤ソフトウェアである。 「FIWARE」は、機能ごとに分かれたソフトウェ アが汎用的に作られており、モジュールを自由に 組わせて利用できため、変化にも柔軟に対応する ことができ、ビジネスの状況に応じてカスタマイ ズすることができる。これまで企業が持つデータ を外部に公開するものとして Application Programming Interface (API) を提供することが一 般的だったが、「FIWARE」は API を用意するだ けでなく仕様を整理し、他のサービスに渡すイン ターフェイスやデータの ID を管理する仕組みな どを用い、分散データ管理なども可能にし、シス テムを横断するアプリケーションの開発を容易に している。日本でも NEC が「FIWARE」に準拠 したスマートシティ向け共通プラットフォームを 構築し、香川県高松市の都市 OS として活用して いる。「FIWARE」は世界26カ国140都市以上で採 用されスマートシティにおける利用率が高くなっ ている。

4. 日本の取り組み

内閣府が今後強化すべき課題、新たに取り組む べき課題を抽出し、目標の達成に向けて策定する 「統合イノベーション戦略20197」(2019年6月21

⁵⁾ スマートシティインスティテュート、「FIWARE について」 https://www.sci-japan.or.jp/member/column/detail/27.html

⁶⁾ EU の第7次研究枠組計画における ICT プロジェクトとして、3億ユーロの予算の下、2011年から5年計画で次世代イ ンターネット官民連携 (FI-PPP) プログラムを実施。

⁷⁾ 内閣府、「統合イノベーション戦略2019 (2019年6月21日 閣議決定)」 https://www8.cao.go.jp/cstp/togo2019_honbun.pdf

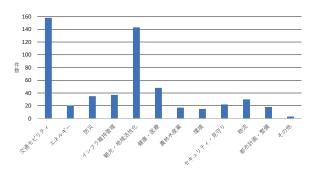
日 閣議決定)では、スマートシティを「Society 5.0」の先行的な実現の場として位置づけている。 また、2020年7月17日に閣議決定された「経済財 政運営と改革の基本方針202081 いわゆる「骨太 の方針2020」でも、スマートシティを社会実装す ることを強力に推進していくことに言及してい る。内閣府、総務省、経済産業省、国土交通省な どを中心として事業が進められ、スマートシティ 推進における基本方針や各府省の連携体制を構築 している。各府省のスマートシティ関連事業とし て、内閣府では「未来技術社会実装事業9)」、総務 省「データ利活用型スマートシティ推進事業100」、 経済産業省「地域新Mobility as a Service (MaaS) 創出推進事業11)」、国土交通省「スマートシティモ デル事業12) 」「新モビリティサービス推進事業13)」 など、推進がなされている。

更には、内閣府、総務省、経済産業省、国土交 通省はスマートシティの取り組みを官民連携で加 速するため、企業、大学・研究機関、地方公共団 体、関係府省などを会員とする「スマートシティ 官民連携プラットフォーム」を設立した120。本プ ラットフォームによる事業支援、分科会の開催、 マッチング支援、普及促進活動などの実施により、 会員のスマートシティの取り組みが支援される。 民間企業からは建設や電気・ガス・水道・通信、 金融やサービス業などあらゆる業種の企業が参画 している。

本プラットフォームのプロジェクトは180件あ ることが確認でき、課題分類別の内訳は図3の通 りである。(2020年11月現在)

課題分類はプロジェクト内で重複しているが、 一番多い課題は「交通モビリティ | 158件(約88 %)であり、次いで「観光・地域活性化」143件

図3 プロジェクト課題分類



出所:スマートシティ官民連携プラットフォーム資料を参 考に政策研で作成

(約79%)、「健康・医療」48件(約27%)、「インフ ラ・維持管理」37件(約21%)、「防災」35件(約 19%)、「物流」30件(約17%)であった。製薬産 業の関われる分野としては「健康・医療」、「物流」 のようなものが考えられる。「健康・医療」分野の 主な取り組みとしては、下記のようなものが挙げ られる。

【北海道札幌市「札幌市データ活用プラットフォー ム構築事業|

歩数データ、生体(身長・体重)データ、個人 意識(アンケート収集)など、匿名加工されたデー タを収集分析し、健康と運動の関係性の確認、傾 向を明確化し、利用者個々人に応じた健康増進な どに係る情報を提供する。

【北海道札幌市「スマートウェルネスシティ協議 会门

国保や協会健保などの健康ビッグデータを「健 康データクラウド」で一元管理したり、「健幸ポイ ント」をインセンティブとして歩くことや公共交 通利用への行動変容の促進を行っている。

【埼玉県熊谷市「熊谷スマートシティ推進協議会」】 「健康ビッグデータに基づくスポーツ健康まち

⁸⁾ 内閣府、「経済財政運営と改革の基本方針2020(2020年7月17日閣議決定)」 https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/2020/2020_basicpolicies_ja.pdf

⁹⁾ 内閣府、未来技術社会実装事業 https://www.kantei.go.jp/jp/singi/tiiki/toshisaisei/

¹⁰⁾ 総務省、「ICT 街づくり推進会議 スマートシティ検討 WG」https://www.soumu.go.jp/main_content/000704769.pdf

¹¹⁾ 野村総合研究所、「新しいモビリティサービスの社会実装に取り組むパイロット地域の募集について」 https://www.nri.com/jp/service/mcs/koubo/mobilitychallenge_2019

¹²⁾ 国土交通省、「スマートシティに関する取り組み」https://www.mlit.go.jp/toshi/tosiko/toshi_tosiko_tk_000040.html 国土交通省、「新モビリティサービス推進事業」https://www.mlit.go.jp/sogoseisaku/transport/sosei_transport_ tk_000115.html

^{13)「}スマートシティ官民連携プラットフォーム」https://www.mlit.go.jp/scpf/

づくり」と称し、ジャパンラグビートップリーグ 所属のワイルドナイツと連携し、選手のコンディ ション管理で培った健康管理データを活用し、市 民が夏の暑さや熱中症を克服できるよう、健康増 進、健康寿命延伸に向けた新たな健康プログラム を構築することが予定されている。将来的には、 特定健診データとの連携を進めることで、地域全 体の医療費負担の軽減を目指している。

【千葉県千葉市「慢性眼疾患の治療継続率向上を目 的とする MaaS を活用した患者サポートプログラ ム」(ノバルティスファーマ)】

患者の通院負担を軽減し、治療継続率向上、自 律的な地域生活への参画に繋がる、地域特化型移 動サービスの提供を目指し、移動困難が想定され る慢性眼疾患患者を対象に、情報配信及び配車予 約・送迎を提供する。製薬企業としてノバルティ スファーマが入り、慢性眼疾患啓発情報を配信す る役割を担っている。

【千葉県柏市「柏の葉スマートシティコンソーシア ムコ

健康拠点でのデータ(医療機関データ、医療・ 介護レセプトなど)と民間で取得されたバイタル データ、ライフログなどを統合し個人で容易に管 理可能にすることを予定している。

【石川県加賀市「加賀市スマートシティ推進官民連 携協議会」】

乳幼児健診と学校健診(胎児期から中学3年生 まで)の情報をデジタル化し、個人が自身の健康 情報を利用することができるアプリを構築し、個 人ごとの健康アドバイス、医療機関での健診情報 提示、ビッグデータとして健康施策に利用するこ とを予定している。

【福岡県飯塚市「スマート・ウェルネス・シティ サービス展開事業」

健幸都市将来像「すべての人が健康でいきいき と 笑顔で暮らせるまち」の実現をめざし、①「健 幸ポイントサービス」、健幸型「MaaS」の開発と 導入、ビッグデータによる「まちづくり意思決定 支援サービス」の開発と導入、公的不動産 (PRE) 活用による「健幸づくりステーション」整備モデ ルの開発と実践を目指している。将来像にもある 通り健康についてフォーカスされており、体組成 計情報の改善や個人別目標の達成、継続率など個 人の活用に応じ、健幸ポイントを付与し利用者へ の価値還元がなされる仕組みを取り入れている。 【熊本県荒尾市「荒尾ウェルビーイングスマートシ ティル

IoT などのセンサー群を用い、市民・来訪者が 健康の重要性に気づき、交流と健康増進が図れる システムを目指す。従来のセンサーの「はかる」 →「わかる」から一歩進め、「おくる」という仕組 みで計測される本人だけでなく、家族などの他者 にもデータが届く仕組みの構築を目指す。

また、「物流」分野としての取り組みは以下に挙 げられるようなものがある。

【埼玉県秩父市「山間地域におけるスマートモビリ ティによる生活交通・物流融合事業|

ドローンを活用して日常の生活用品や医薬品の 配送を行い、高齢者や買い物弱者などの支援を行 う。

【島根県美郷町「映像告知やドローンなどの未来技 術を活用した遠隔医療実装による美郷町版医療福 祉産業イノベーションの実現 | 】

インターネットプロトコル(IP)映像告知端末 を活用した遠隔による医療診断事業、AIを活用し た画像解析による本人確認、キャッシュレス決済 による医療費支払い、ドローンによる医薬品の宅 配を予定している。

【静岡県 浜松市「中山間地域における医療 MaaS プロジェクト」】

医療資源の乏しい中山間地域で、医療を届ける モデルを構築していく。将来的には、医療に留ま らず、地域サービスを届けたり、外出をモビリテ ィで支え、「住みたいまちに住み続けられる」社会 を実現する。「医療を届ける」モデル・通院困難に なっても地域で医療サービスを享受・薬剤の配送 など異業種との連携により、新しい価値創出・収 益化・将来的には、ドローンを活用したラストワ ンマイル改善・ウェルネスデータと連携し、健康 増進を促進することを計画している。

以上のように、「健康・医療 | 分野の取り組みと

しては医療・健康データ基盤の確立、利用者への データ提供、価値還元を行い、市民の健康増進を 支援するようなプロジェクトが多い。また、課題 が多い「交通」分野との連携を考えているプロジ エクトもあり、他業種との連携も非常に重要であ ることが分かる。様々な分野の課題に対応するた めには国や自治体だけではなく、民間企業のそれ ぞれの得意分野において提供できる技術やノウハ ウを活用し、まさに官民連携で創りあげる体制が 必要となる。そのため、建設やIT、インフラ、 メーカーなど、ほとんどすべての地域のスマート シティの推進において、民間企業が重要な役割を 果たしている。「スマートシティ官民連携プラット フォーム」に参画している業種は、建設業24団体、 製造業26団体、卸売小売・飲食店12団体、金融・ 保険業13団体、不動産業20団体、運輸・通信業62 団体、電気・ガス・水道・熱供給業12団体、サー ビス業132団体と多岐にわたる。「交通」分野だけ でなくその他の分野でも「健康・医療」分野と連 携できる可能性を模索し検討していくことが重要 であろう。しかし、現時点で製薬企業の参画して いる事例は、千葉市で行われている「MaaS を活 用した患者サポートプログラム」の1事例のみで あり、その他に製薬企業が参画している事例は認 められなかった。スマートシティにおける「健康・ 医療」分野の活動では医療機関、薬局など直接市 民と関りのある業種(BtoC)の方が動きやすいこ とが一因にあると考えられる。

日本ではトヨタが2020年1月7日(火)、アメリ カ・ラスベガスで開催された世界最大規模のエレ クトロニクス見本市「CES 2020」において、静岡 県裾野市に「ウーブン・シティ (Woven City)」と 呼ばれる実験都市を開発するプロジェクト「コネ クティッド・シティ」を発表した140。網の目のよ うに道が織り込まれあう街の姿から名付けられた この都市では、初期は、トヨタの従業員やプロジ ェクトの関係者をはじめ、2.000名程度の住民が暮

らすことを想定し、人々が生活するリアルな環境 での実証都市を目指している。このプロジェクト は、新しい技術を導入・検証できる実証都市を、 人々が生活を送るリアルな環境のもとで作る。そ の技術は、自動運転、MaaS、パーソナルモビリテ ィ、ロボット、スマートホーム技術、人工知能 (AI) 技術など、人々の暮らしを支えるあらゆる ものを対象としている。今後、サービスが情報で つながっていく社会において、技術やサービスの 開発と実証を迅速に行うことで、新たな価値やビ ジネスモデルを生み出すことを狙いとしている。 このように、一部の企業では、スマートシティに 関する取り組みを新たな事業機会として積極的に 捉えている様子がうかがえる。

5. 海外の動き

イギリス マンチェスターではスマートシティ を強力に推進している。Manchester Corridor と 名付けられた世界規模の研究所、大学、医療機関 などが集中するエリアでは、2015年~2017年に 「CityVerve」プロジェクトとして、「医療・健康」 「輸送・交通」「エネルギー・環境」「文化・コミュ ニティ |の4分野に特化した実証実験が行われた。 「医療・健康」分野では、バイオメトリックセンサ ネットワークにより、呼吸器疾患患者の健康を向 上するための取り組みや、個人やグループによる 運動や活動の状況を把握・記録し、利用者に提供 することで、運動を推奨(コミュニティウェルネ ス) するような取り組みが行われている¹⁵⁾。

シンガポールではスマートシティ政策として、 2014年から「スマート・ネーション構想 (Smart Nation Singapore)」が進められている¹⁶⁾。スマー ト・ネーション構想とは、デジタル技術とデータ の活用を通じて、シンガポールが抱えるさまざま な課題(少子高齢化、経済成長の鈍化、交通渋滞 など)の解決、イノベーションの創出および国民 生活の向上をめざす政策である。スマート・ネー

¹⁴⁾ TOYOTA、ニュースリリース2020年1月6日 https://global.toyota/jp/newsroom/corporate/31170943.html

¹⁵⁾ CiityVerve, https://www.bt.com/about/innovation/innovating-with-customers/cityverve

¹⁶⁾ Smart Nation Singapore, https://www.smartnation.gov.sg/

ション構想では、5つの分野、①企業・ビジネス 支援(Strategic National Projects)、②電子政府 (Digital Government Services)、③都市生活 (Urban Living)、④交通(Transport)、⑤健康(Health) が設定されており、それぞれの領域で複数のプロ ジェクトが進められている。ヘルスケア分野にお けるプロジェクト事例として、ロボットや新技術 を開発する取り組みである「Assistive Technology and Robotics in Healthcare」では、ロボットに よる高齢者や障がい者の介護支援、ドローンによ る医薬・医療機器の配送、医師向けの AR 技術の 開発などが行われている。また、医療施設の位置 や健康に関するアドバイスなどを提供するポータ ルサイトを整備する取り組みである「HealthHub」 では、公的医療機関が保有する個人の健康データ や予防接種の記録などの自己閲覧が可能となって

日本国内のトヨタの事例と同様に海外でも民間 企業主導で取り組まれている事例もある。米国の Google は傘下の Sidewalk Labs を通じ、カナダの トロントで、ありとあらゆる場所、ヒト、モノの 動きをセンサーで把握し、効率化・快適化を追求 するスマートシティの街づくりに着手していた。 都市には街中にセンサーが設置され、住民の行動 はすべて記録に残され、公園でどのベンチに座っ たか、道を横切る際にどれだけの時間を要したか まで追跡される予定であった。民間企業がどのよ うにして、これだけのデータを管理していくのか という懸念の声が、国内外から上がっていたが、 2020年5月に開発中止の発表がなされた170。中止 理由は明確に発表されていないが、本人の同意を 得ない大量データ収集によるプライバシーの侵害 が大きな要因になったのではないかと考えられて

中国のテンセントは2020年6月9日、広東省深 圳に「ネット·シティ」を建設すると発表した¹⁸⁾。 テンセントは2019年5月に、持続可能な都市発展

という切り口で、人を主体とした分散型インテリ ジェンス、複数の中間プラットフォームによる連 携、多彩なオンデマンドサービスの技術体系を構 築する「WeCity 未来都市」構想を打ち出してい る。その中の行政事務、コミュニティ、小売、交 通、医療、教育、建設など各分野のソリューショ ンもこのネット・シティでの実用化を計画してい る。

6. 蓄積されるデータ

事例紹介でも触れたが、スマートシティでは携 帯基地局データやGPSによる人流データ、商業施 設の購買情報、健康情報(歩数データ、生体(身 長・体重) データや検診情報など) などの多種多 様なデータが収集されることが想定される。それ らのデータが、都市 OS を通じてスマートシティ サービスを提供することで、データやサービスが 自由かつ効率的に連携されることが重要となる。 また、連携されたデータを用い分析などを行い、 生活者の価値向上に繋がるサービスを提供するこ とによりスマートシティのフローを円滑にするこ とが可能となるであろう。海外の事例で紹介した シンガポールでは、各種センサーを全土に据え付 け、得た情報を各省庁が共有し、速やかに国民の ニーズに対応する体制を整える計画を2014年に発 表し、「Smart Nation Platform(SNP)」という データ活用基盤を作り、センサー1,000個(監視カ メラを含む)を人の往来の多い場所に設置し、デー タを集約している。収集したデータの分析結果は、 経済、教育、環境、ファイナンス、健康、インフ ラ、社会、技術、交通の分野にわけて公開がなさ れている。

しかし、パーソナルデータの提供に対する生活 者の不安感は強い。厚生労働省が2020年12月に調 査した [民間Personal Health Record (PHR) サー ビス利用者へのアンケート調査結果191 によると、 PHR全ユーザーの意向として、健康診断結果など

¹⁷⁾ Sidewalk Labs, https://www.sidewalklabs.com/

¹⁸⁾ CNN、2020年6月26日、https://www.cnn.co.jp/tech/35155376.html

¹⁹⁾ 厚生労働省、「民間 PHR サービス利用者へのアンケート調査結果等」 https://www.mhlw.go.jp/content/10904750/chosakekka.pdf#page=14

健康に関するデータの連携意向は「医療機関」で 約30%程度であり、同じ健康に関するデータの「第 三者研究機関」や「第三者企業」への連携意向は 約3%と低い結果からも、日本の生活者のパーソ ナルデータ提供に関する信頼性が低いことが見て とれる。第三者がデータ活用をする上で、国民の 理解を得ることは重要であるがどのようにコンセ ンサスを得ていくのか検討する必要があることが うかがえる。

7. まとめ

製薬産業として患者さんに関する課題(治療 ニーズ、剤形変更など)を解決すべく、各々の企 業が取り組みを行っている。しかし、製薬産業は 病院や薬局といった BtoB の業態をとっているた めスマートシティのような市民とオープンイノ ベーションを推進していくようなプロジェクトに は参画しづらいものと考えられる。また、スマー トシティで活用される資金調達手法としても、銀 行など金融機関からの借入や社債、地方債をはじ め、プロジェクトボンド、グリーンボンド、TIF (Tax Increment Financing)、ソーシャルインパク トボンド (Social Impact Bond) などが挙げられ るが、マネタイズが明確にはなっていない現時点 での資金捻出についても懸念があることが考えら れる。スマートシティでの取り組みは、1対1の

関係ではなく様々な業態の取り組みを連携するこ とにより課題解決を図ることができるものと思わ れ、医療アクセスの向上や価値還元を考えると現 在の医療体制システムの構築も含め様々な対応策 を検討することが可能となる。例えば、現在は山 間部でのみ実証実験がされているようなドローン における医薬品配送など、患者さんの利便性を考 え、どのように医薬品(情報も含め)を患者さん のもとに届けるのか、製薬企業が担える役割をス マートシティのプロジェクト構築とともに考えて いくことも重要であろう。他にも、都市データ基 盤が整っており、ワクチンの定期接種や検診情報 の連携などできている状態であれば、今回のコロ ナ禍のような状況でもスムーズにワクチン接種の 体制構築が可能になることが予想される。今後も 同じような新興・再興感染症の拡大に対応できる ようデータの活用について整備をしていく必要が あろう。また、医療機関の情報だけでなく、健康 情報を含むパーソナルデータの第三者利用につい て国民の信頼感を高めるための方策を、製薬産業 だけでなく国としても検討していくことも避けて は通れない道である。個人情報保護の観点やセキ ュリティの観点から、サービスを安全に提供でき るように体制を整えることも考えなくてはならな いことを付け加えておく。

日米欧 NME 承認品目の創出企業の国籍

-2010~2019年の承認品目を中心に-

医薬産業政策研究所 主任研究員 澁口朋之

はじめに

医薬産業政策研究所では、医薬品世界売上高上 位100品目について、各品目の基本特許1)を調査 し、出願時の医薬品創出企業を継続的に調査・報 告している2)。また、希少疾病用医薬品や日米欧 の薬事上の特別措置を受けた品目に焦点を当てた 調査も行ってきた3)。これまでの分析に加え、よ り最近の新薬創出の実績や全体的な傾向を把握す るため、2010~2019年の10年間に日米欧各極で新 有 効 成 分 含 有 医 薬 品(New Molecular Entity. NME) として承認された品目を対象として創出企 業の国籍調査を行ったので報告する。

研究方法

NMEは、政策研ニュース No.61にて吉田らが報 告した「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比 較」4)で用いた日米欧各審査機関の承認情報およ び分析結果をもとに、それぞれの審査機関でNME と特定された品目とした。

各品目の基本特許はクラリベイト・アナリティ クス社の Cortellis Competitive Intelligence を用 い、各品目の"Patent"に収録された特許のうち、 "Product"に分類された特許をもとに特定した。

創出企業・機関の国籍はこれまでの調査と同様に、 上記特許に記載されている出願人/譲受人の国籍 としているが、出願時点に海外親会社がある場合 には親会社の国籍とした。なお、一部の製品に関 しては特許が無い等の理由で特定できなかったも のもある。

日米欧各極で承認された NME の創出企業国籍

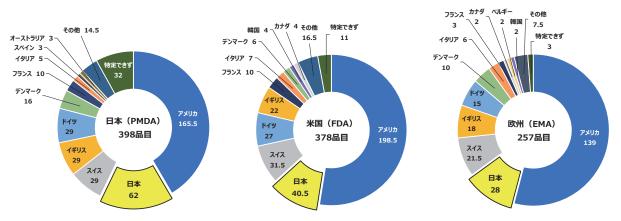
2010~2019年の10年間(欧州は2013~2019年の 7年間)に承認された NME の創出企業国籍につ いてそれぞれ上位10か国についてまとめた (図1)。

日本ではこの期間に398品目がNMEとして承認 され、創出国は全部で19か国であった。その中で アメリカが最も多く、165.5品目であった。2番手 は日本の62品目、3番手に29品目でスイス、イギ リス、ドイツが続いた。割合や順位の違いはある ものの、基本的にはこれまでの政策研ニュースで 報告してきた内容と同様の傾向であった。

アメリカでNMEとして承認された品目は378品 目であった。創出国は23か国にのぼったが、1番 手はアメリカの198.5品目と半数以上を占めた。2 番手は日本で40.5品目あり、スイス (31.5品目)、

- 1) 本調査における基本特許とは、物質特許や用途特許等、各品目の鍵となっている特許を示す。
- 2) 医薬産業政策研究所「国・企業国籍からみた医薬品の創出と権利帰属」政策研ニュース No.42 (2014年07月)、以降、政 策研ニュース No.47(2016年3月)、No.50(2017年3月)、No.52(2017年11月)、No.55(2018年11月)、No.58(2019年 11月)、No.61 (2020年11月)
- 3) 医薬産業政策研究所 [日本で承認された希少疾病用医薬品の創出国 2008年度から2017年度] 政策研ニュースNo.54
 - 医薬産業政策研究所「日米欧の薬事上の特別措置を受けて承認された医薬品の創出国」政策研ニュース No.57 (2019年
- 4) 医薬産業政策研究所「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較 -2019年承認実績を中心に-」政策研ニュース No.61 (2020年11月)

日米欧各審査機関で承認された NME の創出企業国籍 図 1 (2010~2019年、欧州は2013~2019年)



注:数は品目数。出願人として複数の企業・機関が記されている場合、国籍別に均等割している。

出所: PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研 究所にて作成

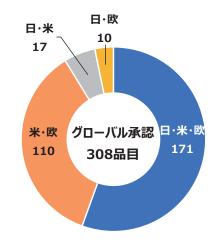
ドイツ(27品目)、イギリス(22品目)と続いた。 欧州に関してはデータの都合上2013~2019年の 集計データである。本期間中に NME として承認 された品目は257品目あり、創出国は19か国あっ た。欧州においてもアメリカが最も多く、半数以 上の139品目を占め、2番手は日本の28品目であっ た。その後は日米同様にスイス(21.5品目)、イギ リス(18品目)、ドイツ(15品目)と続いた。

いずれの国・地域においても日本が2番手であ った。創出国はいずれも20か国前後であり、アメ リカ、日本、およびスイス、イギリス、ドイツを はじめとする欧州各国が創出国の中心であった が、韓国および中国の品目も複数見られた。

日米欧2極以上で承認された NME (2010年以降初承認品目)

前節で検証した結果は各国・地域内のみで展開 されるローカルドラッグも含まれる。グローバル 展開される医薬品の創出企業国籍を調べる目的 で、図1に示した品目を対象に日米欧2極以上で 承認を受けた品目 (グローバル承認品目) を抽出 した 5 。なお、抽出にあたり各品目の2010年以前 もしくは2020年の承認状況を確認し、2極以上か つ2010年以降に初めて承認を受けた品目を抽出し た。その結果、308品目が本条件に該当し、その内 3極で承認を受けている品目が最も多く171品目 あった (図2)。米・欧のみで承認されている品目 が110品目あったが、その内43品目は日本で開発を 行っており6)、今後承認される可能性がある。以 降の節では308品目について解析を行った。

図2 グローバル承認品目の内訳



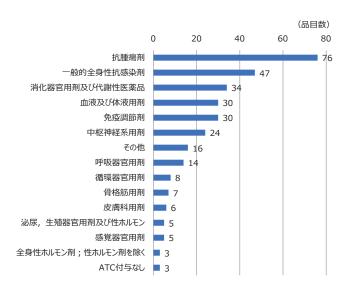
注:日米欧2極以上で承認され、2010年以降にいずれかの 審査機関で初めて承認を受けた品目

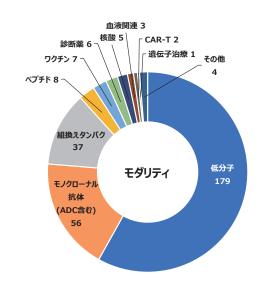
出所:PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産 業政策研究所にて作成

⁵⁾ 調査時時点(2020年12月)において単一国のみで承認を受けた品目であっても将来的にグローバル展開する可能性がある。

⁶⁾ Cortellis Competitive Intelligence の各品目の"Development Status"において日本での開発状況が確認できたもの。

図3 グローバル承認品目(308品目)の特徴





出所: PMDA、FDA、EMAの各公開情報、WHO ATC Index、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをも とに医薬産業政策研究所にて作成

グローバル承認品目の特徴

前節で抽出した308品目について、薬効分類7)お よびモダリティ8)を図3にまとめる。薬効分類で は抗腫瘍剤が76品目と最も多く、続いて一般的全 身性抗感染剤(47品目)、消化器官用剤及び代謝性 医薬品(34品目)、血液及び体液用剤(30品目)、 免疫調節剤(30品目)と続いた。モダリティに関 しては低分子が179品目と全体の6割弱を占めた。 続いてADCを含むモノクローナル抗体が56品目、 組換えタンパクが37品目となった。また、核酸、 CAR-T や遺伝子治療など昨今注目を集めるモダ リティも含まれた。

グローバル承認品目の創出企業国籍

グローバル承認品目308品目について創出企業 国籍分類を行った。創出国は全部で17か国あり、 上位10か国の結果をまとめた(図4左)。本集計に おいても日本はアメリカに次ぐ2番手、35品目で あった。創出国および地域に関しては図1とほぼ 同じ内容であったが、本集計においても韓国が3

品目見られた。政策研ニュース No.61にて鍵井が 報告9)したように韓国企業による新薬開発が進ん でおり、今後の動向が注目される。図4右は308品 目について初承認年をもとに年次推移をとったも のである。2010年から3~4年間ずつの累計とな るが、2010年代後半になるにつれ、アメリカの品 目が増えている。年次推移ではアメリカ主体の傾 向が見られたが、日本はそれぞれの期間において 2もしくは3番手の品目数であり、グローバルに 用いられる医薬品創製の担い手として継続的に NMEのタネを創出し続けていることが分かった。

モダリティの創出企業国籍

図3に示したモダリティのうち、品目数の多い 3 モダリティの創出企業国籍についてまとめた (図5)。低分子は179品目あり、図4に含まれる17 か国のうち、16か国が含まれた。日本はアメリカ に次ぐ2番手30品目であり、スイス (15.5品目)、 イギリス(14品目)、ドイツ(10品目)と続き、全 体的に図4の順位と同じ傾向であった。

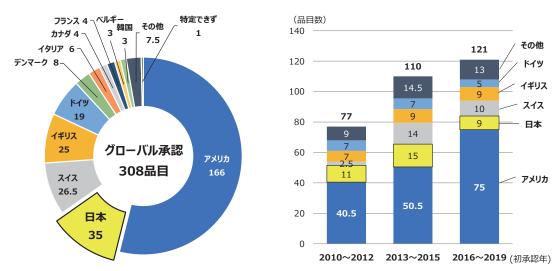
⁷⁾ 薬効分類はWHOの下記Webサイトを参照し、各品目のThe Anatomical Therapeutic Chemical code (ATC code) を もとに行った。

ATC/DDD Index 2021: https://www.whocc.no/atc_ddd_index/

⁸⁾ モダリティは Cortellis Competitive Intelligence の各品目にある "Technology" をもとに著者による分類を行った。

⁹⁾ 医薬産業政策研究所「創薬モダリティ別医薬品開発パイプラインから見た新規医薬品の創製企業(Originator) に関す る調査」政策研ニュース No.61 (2020年11月)

図 4 グローバル承認品目の創出企業国籍と年次推移



注:出願人として複数の企業・機関が記されている場合、国籍別に均等割している

出所:PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研 究所にて作成

フィンランド_{韓国} その他 ベルギー 2 特定できず イタリア 韓国 デンマーク 1 スイス イタリア 4 5.5 ベルギー 1 フランス 4 ドイツ カナダ イギリス モノクローナル抗体 組換えタンパク 低分子 アメリカ アメリカ 5 アメリカ (ADC含む) 37品目 179品目 デンマーク 24 スイス 56品目 スイス 日本

図 5 モダリティの創出企業国籍

注:出願人として複数の企業・機関が記されている場合、国籍別に均等割している

出所:PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研 究所にて作成

ADC を含むモノクローナル抗体は56品目あり、 創出国は7か国であった。アメリカ(31品目)、ス イス(9品目)に続き、日本はイギリスと同じ5 品目で3番手につけた。低分子に比べ順位や割合 は低くなるものの、バイオ医薬品の1つであるモ ノクローナル抗体を日本が創出していることが分 かった。

モダリティの中で3番目に多かった組換えタン パク(37品目)では創出国として7か国見られた。 アメリカが1番手で24品目と6割以上を占め、次 いでデンマーク(5品目)、カナダ(3品目)とな

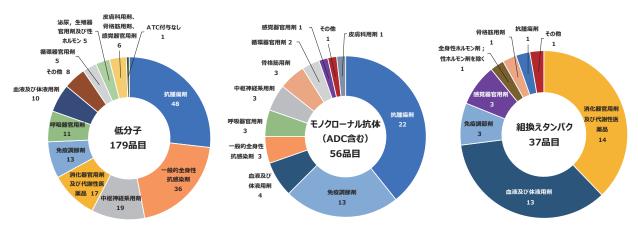
った。順位・創出国は前述の低分子やモノクロー ナル抗体と傾向が異なった。

グローバル承認品目として韓国が3品目見られ たが、その内2品目が低分子、1品目が組換えタ ンパクであった。

モダリティと薬効分類

前節では組換えタンパクにおいて、創出国の傾 向が低分子やモノクローナル抗体と異なる傾向が 見られた。その背景を探る目的で各モダリティと 薬効分類について調査した。

図6 モダリティと薬効分類



注:出願人として複数の企業・機関が記されている場合、国籍別に均等割している

出所:PMDA、FDA、EMAの各公開情報、WHO ATC Index、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをも とに医薬産業政策研究所にて作成

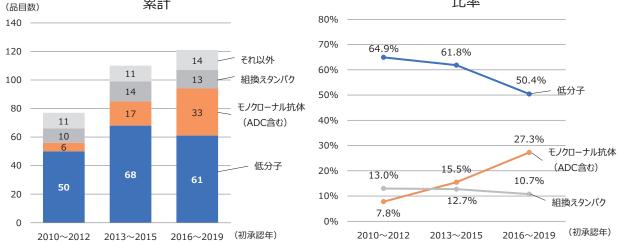
図6左側に示すように低分子は図3に示した薬 効分類のほぼすべてを網羅(13/14薬効分類)し、 品目割合も傾向としては同じであった。ADCを含 むモノクローナル抗体では主に抗腫瘍剤、免疫調 節剤が多かったが、その他の薬効分類についても 適応されており、図3に示した14薬効分類中11分 類にて活用されていた。組換えタンパクでは、消 化器官用剤及び代謝性医薬品と血液及び体液用剤 が全体の7割強を占めた。図に示していないが、 上記2つの薬効分類の中でも一部の分類に集中し ていた。具体的には前者においてはインスリン製 剤などの糖尿病用薬、および希少疾病医薬品に多

くみられる、その他の消化器官用剤及び代謝性医 薬品であった。また後者においてはそのほとんど が抗出血薬に分類される品目であった。このよう にある程度限定された領域において組換えタンパ クは活用されており、その技術及び薬効領域を得 意とする企業国籍が反映されたものと思われる。

モダリティの年次推移

続いて3モダリティについて初承認年別に年次 推移を調査した(図7)。低分子がいずれの期間に おいても最も品目数が多かった(図7左)。一方、 品目全体の比率でみると徐々に低下傾向であり、





モダリティの年次推移

出所:PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研 究所にて作成

2010~2012年では65%程度であったが、2016~ 2019年では50%程度まで下がっている。その一方 でモノクローナル抗体の承認数が品目数・割合共 に増加傾向にあり、2016~2019年では全体の3割 弱を占めるようになっていた。組換えタンパクに 関しては大きな変化は見られなかった。

創出国とモダリティ

最後に創出国とモダリティの関係を調査した。 図8に示すようにアメリカは品目数が多く、核酸 やCAR-Tなど注目を集めるモダリティも含め、グ ローバル承認品目における各モダリティの割合と 同じ傾向であった。一方日本は35品目中30品目と 低分子が8割以上を占め、他はADCを含むモノ クローナル抗体5品目であった。日本と品目数の 近いスイス、イギリス、ドイツでは低分子と抗体 が多くを占めるものの、他に複数のモダリティの 品目が見られた。今回の調査期間において日本は 低分子とモノクローナル抗体のみであったが、そ れ以前ではペプチドなど他のモダリティの品目も 創製していた。組換えタンパクやワクチンに関し ては日本のみの承認品目として複数あったが、2 極以上での承認品目という観点ではなかった。

まとめ

これまで見てきたように2010~2019年に NME として承認された品目において、各国・地域別、 および2極以上で承認を受けた品目のいずれの集 計においても日本が2番手の創出国となった。ア メリカオリジンの品目がいずれも全体の半数以上 を占め、年次推移でアメリカのシェアが高まる傾 向も見られるが、グローバルに用いられる医薬品 創製の担い手として日本が世界で一定の地位にあ ることが示された。

また、今回モダリティに着目して創出企業やそ の薬効分類の特徴について調査を行った。日本が

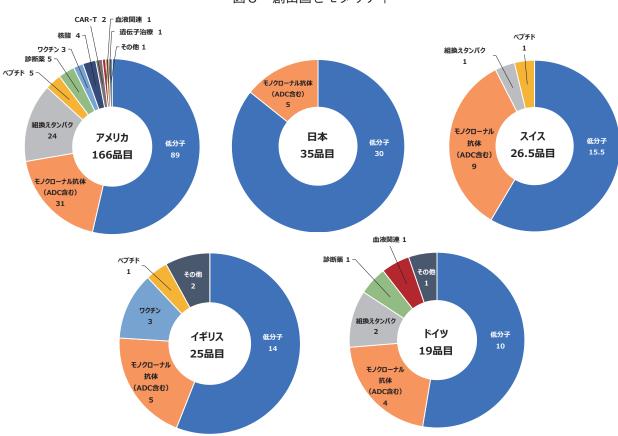


図8 創出国とモダリティ

注:出願人として複数の企業・機関が記されている場合、国籍別に均等割している

出所: PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研 究所にて作成

低分子に特化している傾向が改めて認識されたも のの、モノクローナル抗体を中心にバイオ医薬品 の創出にも寄与していることが分かった。また、 今回の調査期間には含まれないものの、デュシェ ンヌ型筋ジストロフィー治療剤として日本新薬が 創製した核酸医薬であるビルトラセン (製品名: ビルテプソ®)が2020年に日米で承認を得ており、 今後も日本創製品のモダリティ多様化を期待した 130

モダリティはあくまで対象とする疾患治療に最

適なものを選ぶべきであり、新しいモダリティが 最適とは限らない。また低分子で代替できるメカ ニズムも存在すると思われ、低分子に強みを持っ ていることは資産だと考えられる。同時に、新し いモダリティによって初めて解明される疾患メカ ニズムや治療手段があることも確かであり、今後 も継続して新薬を創出していくためにも創薬の手 段として積極的に活用する能力を構築していく必 要があると思われる。

目で見る製薬産業

日本で承認された新医薬品とその審査期間

-2020年承認実績と過去10年の動向調査-

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉田昌生

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、2、3)。今回の ニュースでは、2020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。加えて、2010~ 2020年の継続的な調査から見えてくる現況を、新 有効成分含有医薬品、モダリティ区分、疾患区分、 先駆的医薬品指定制度、特例承認に係る品目、そ れぞれの分析を切り口に考察した。

調査方法

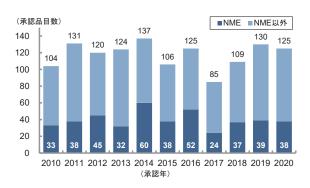
調査の対象は、独立行政法人医薬品医療機器総 合機構(PMDA)のホームページの「新医薬品の 承認品目一覧」4)に掲載されている医薬品とした。 品目は審査報告書毎にカウントすることを基本と し、学会等からの要望により同一成分の品目を複 数の企業が同時に公知申請したような場合や併用 薬物療法等にて複数成分が承認されたものは1つ の品目として集計した。各品目の承認情報は、審 査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書お よび薬務公報から抽出した。解析には、標準的な 統計解析ソフトStata/IC 14.0 for Windows (Stata Corp LP, College Station, TX, USA) を使用し、審

査期間は承認申請日から承認日までの期間として 算出した。

新医薬品の承認品目数とその内訳

2010~2020年の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 2020年に承認された新医薬品の品目数は125品目 で、2019年より5品目減少したものの、2010~2019 年の平均承認品目数(117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: New Molecular Entity) は38品目が承認され、2019 年と比較して1品目減少、2010~2019年の平均承

新医薬品の承認品目数の年次推移 図 1



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

- 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
- 2) 医薬産業政策研究所、「2019年に日本で承認された新医薬品とその審査期間」政策研ニュース No.59 (2020年3月)
- 3) 医薬産業政策研究所. 「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較 2019年承認実績を中心に 」政策研ニュース No.61 (2020年11月)
- 4) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構(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/0010.html) Accessed on Jan 26, 2021

表 1 新医薬品の承認品目の内訳(承認年毎;2010~2020年)

	品目特性	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	Total
	承認品目数	104	131	120	124	137	106	125	85	109	130	125	1,296
部会	部会審議品目	71	74	82	70	100	71	96	49	67	79	80	839
区分	部会報告品目	33	57	38	54	37	35	29	36	42	51	45	457
	新有効成分含有医薬品 (NME)	33	38	45	32	60	38	52	24	37	39	38	436
	(%)	(31.7)	(29.0)	(37.5)	(25.8)	(43.8)	(35.9)	(41.6)	(28.2)	(33.9)	(30.0)	(30.4)	(33.6)
	新医療用配合剤	8	5	3	6	8	2	8	2	5	5	5	57
	新投与経路医薬品	7	5	8	7	8	2	6	4	4	6	6	63
申請	新効能医薬品	34	59	41	57	46	51	45	36	40	45	58	512
区分	新剤型医薬品	3	2	1	3	0	3	1	2	1	3	2	21
	新用量医薬品	16	22	20	16	8	9	11	14	15	18	12	161
	バイオ後続品	1	0	1	1	3	0	1	2	6	8	2	25
	類似処方医療用配合剤	2	0	1	2	3	0	1	1	1	1	2	14
	その他の医薬品	0	0	0	0	1	1	0	0	0	5	0	7
	通常審査品目	89	116	97	104	94	76	86	61	71	92	91	977
	優先審査品目	13	15	23	20	43	30	39	24	38	38	33	316
	うち、希少疾病用医薬品	10	9	18	14	33	24	33	19	32	35	23	250
審査	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	10	66
区分	うち、先駆け審査指定制度対象品目	_	_	_	_	_	_	_	_	3	2	5	10
	迅速処理品目	12	41	25	24	13	9	5	11	9	13	3	165
	うち、事前評価済公知申請品目	10	34	23	21	10	4	5	5	9	5	3	129
	特例承認に係る品目	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	3

- 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)、 及び、2020年の特例承認1品目(ベクルリー点滴静注液100 mg、同点滴静注用100mg)は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅 速には分類せずに「特例承認に係る品目」とした

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)、及び、薬務広報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

認 NME 品目数(40品目)と同程度であった。

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、2020年は前述の NME の他、 新剤型医薬品は2品目、新用量医薬品は12品目で あり、これらの数値は2019年より減少した。一方、 新効能医薬品は58品目であり、2019年と比較して 13品目増加し、これは弊所が記録している2000年 以降で2011年の59品目に次ぐ多さであった。また、 バイオ後続品(バイオシミラー)は2品目5)と、 2019年と比較して6品目減少し、2017年以来の少 なさであった。

審査区分別の内訳では、通常審査品目が91品目、 優先審査品目は33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26%であり、2014年以 降の水準(30%前後)と同程度であった。ただし、 優先審査品目のうち、希少疾病用医薬品は23品目 と、2019年と比較して12品目減少した。先駆け審 査指定制度対象品目については、2018年に最初の 対象品目が承認されて以来、過去最多の承認数と なる5品目が承認された。加えて、現在も世界中 で感染拡大が続く「新型コロナウイルス(SARS-CoV-2) による感染症」を効能・効果として、「ベ クルリー点滴静注液100 mg、同点滴静注用100 mg」が特例承認された。特例承認に係る品目が承 認されたのは、2010年に「新型インフルエンザ (H1N1) の予防」を効能・効果として承認された 2つの輸入ワクチン以来のことであった。

新医薬品の審査期間

2010~2020年に承認された新医薬品の審査期間 の推移を表2および図2に示した。2020年に承認 された全125品目の審査期間の中央値は10.6ヶ月 と、2019年より0.7ヶ月長く、これは審査期間が大 幅に短縮した2011年以降では僅差ながらも最も長

^{5) 2020}年はバイオ後続品(申請区分)として、インスリン リスプロ1品目、アダリムマブ1品目が承認されている。

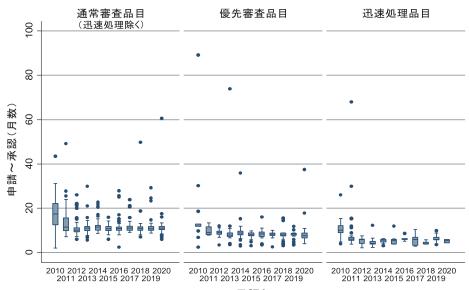
表2 新医薬品の審査期間(月数)の推移(承認年毎;2010~2020年)

		全	体		通常審	査品目	(迅速処理	里除く)		優先審	查品目			迅速処	理品目	
承認年	N	中央値	平均值	SD	N	中央値	平均值	SD	N	中央値	平均值	SD	N	中央値	平均值	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
2020	125	10.6	10.5	5.8	88	11.0	11.6	5.5	33	7.7	8.5	5.8	3	5.4	5.2	0.7
計	1,296	10.1	11.0	9.4	812	11.0	12.6	10.4	316	8.5	9.1	6.7	165	5.7	6.7	5.9

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)、 及び、2020年の特例承認 1 品目(ベクルリー点滴静注液100 mg、同点滴静注用100mg)は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅速 には分類せず承認品目数にのみ含めた。

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

新医薬品の審査期間(月数)の推移(承認年毎;2010~2020年) 図2



承認年

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 IH 5 %静注2.5 g/50 mL」(審査期間208.2ヶ月)

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

いものであった。

次に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11.0 ヶ月であり、こちらは2011年以降の審査期間と同 様であった。一方、優先審査品目の審査期間中央 値については7.7ヶ月と、2019年より0.7ヶ月短く、

2010年以降の最短で審査処理されていた。なお、 通常審査品目(迅速処理除く)と優先審査品目其々 の審査期間の80パーセンタイルは、11.9ヶ月、8.9 ヶ月であり、目標値とされる12ヶ月以内、9ヶ月 以内に承認されていることが確認できた6)。

続いて、NMEとNME以外に区分した場合の審

⁶⁾独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) ホームページ 第四期中期目標:https://www.pmda.go.jp/files/000228975.pdf

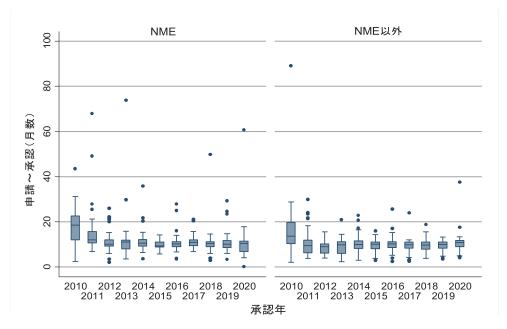
表3 NME と NME 以外の審査期間(月数)の推移(承認年毎;2010〜2020年)

		N	ME			NME	以外	
承認年	N	中央値	平均値	SD	N	中央値	平均值	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
2020	38	10.4	10.9	8.9	87	10.8	10.4	3.7
計	436	10.6	11.9	7.3	860	10.0	10.5	10.3

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)、 及び、2020年の特例承認1品目(ベクルリー点滴静注液100 mg、同点滴静注用100mg)は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅速 には分類せず承認品目数にのみ含めた。

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

図3 NME と NME 以外の審査期間(月数)の推移(承認年毎;2010~2020年)



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 IH 5 %静注2.5 g/50 mL」(審査期間208.2ヶ月)

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

査期間の推移について表3および図3に示した。 2020年に承認された NME 38品目の審査期間の中 央値は10.4ヶ月であり、2019年より0.4ヶ月長かっ た。NME 以外の品目については審査期間の中央 値が10.8ヶ月となっており、2019年より0.9ヶ月長 く、これは2011年以降で最も長い審査期間を要し たことになる。また、2020年は NME の審査期間 のばらつき (標準偏差:SD) が例年に比べて大き

かったが、こちらについては審査に60ヶ月以上要 した品目があり、その影響であろうと見てとれた。 (図3)

新医薬品の承認品目に関する分析

2010~2020年に承認された新医薬品に関して、 各区分別での経年分析をおこなった。NME承認 品目に関しては審査区分別および内外資企業 別での2つの調査を、新医薬品全体の承認品目に ついてはモダリティ区分としてバイオ医薬品8) と低分子等医薬品9)、疾患区分として希少疾病用 医薬品と抗悪性腫瘍薬に関して調査をおこなっ た。

最初に、NME 承認品目数に関する審査区分別 の年次推移を図3に示した。2020年に承認された NME 38品目の審査区分別内訳は、通常審査品目 が26品目 (68%)、優先審査品目数が7品目 (18 %)、先駆け審査対象品目が4品目(11%)、特例 承認に係る品目が1品目(3%)であった。先駆 け審査指定品目の NME 承認品目数は2018年に初 めて承認されて以来、最多の品目数であった。優 先審査品目(先駆け審査指定対象品目含む)の NME 承認品目数に占める割合は、2010年、2011 年の20%前後から2014年に向けて増加したが2014 年の47%をピークに減少に転じ、2020年には29% と2012年の水準まで下がった。

次に、NME承認品目数に関する内外資企業別 の年次推移を図4に示した⁷⁾。NMEの申請企業を 内外資企業別に見ると、2020年の内資企業のNME は17品目(45%)、外資企業のNMEは21品目(55 %)であった。2010~2020年の期間において、内

図3 NME 承認品目数の年次推移 (審査区分別)



*: 先駆け審査指定制度対象品目含む

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 (図3、4)

資企業 NME 承認品目数の占める割合が半数を超 えた年は2012年、2019年の2回のみであり、2012 年から2017年にかけてその割合は減少していたも のの2017年からは反転し、2019年には2010年以降 で最も高い割合(56%)を示していた。

続いて、NME に限定せず新医薬品の全承認品 目を対象に、バイオ医薬品8)とそれ以外の低分子 等医薬品9)の承認品目数の年次推移を図5、6に 示した。

2020年に承認された全125品目のうち、バイオ医 薬品の承認品目数は46品目であった。その内訳は、 NME が9品目、バイオ後続品が2品目、それら 以外(新効能医薬品等)が35品目であった。2020 年のバイオ医薬品NME数(9品目)は、全NME 38品目の24%を占めたことになる。2010~2020年 の期間において、バイオ医薬品承認品目数が全承 認品目数に占める割合は、2010年は22%、2012年 には16%と落ち込んだが、2020年には37%を占め るまでに至った。ただし、バイオ医薬品 NME に ついてはコンスタントに承認されてはいるもの の、その数が大幅に伸びている傾向はない。直近 3年のバイオ医薬品承認品目数については、バイ オ後続品や新効能医薬品等の品目が多くの割合を

NME承認品目数の年次推移(内外資企業別) 図 4



⁷⁾ 本稿で用いた内外資企業の定義:厚生労働省「医薬品・医療機器産業実態調査:用語の解説」を参照。2020年の申請企 業である楽天メディカルジャパンについては内資企業として集計した。(https://www.mhlw.go.jp/toukei/list/87-1b. html#list02)

⁸⁾ 本稿で用いたバイオ医薬品の定義:厚生労働省「バイオ医薬品・バイオシミラー講習会」資料参照 (https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000132762_00005.html) Accessed on Jan 26, 2021.

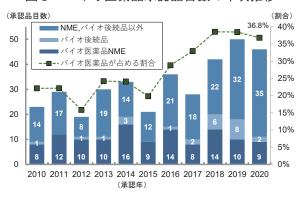
⁹⁾ 本稿で用いた低分子等医薬品の定義:バイオ医薬品と定義されたもの以外を低分子等医薬品としている。

占めていることがわかる。

対して、低分子等医薬品の承認品目数について は、2012年には全承認品目数の84%を占めていた が2018年には62%まで割合は下がった。ただし、 直近3年はその割合に大きな変化はなく、2020年 は63% (79品目) となっている。また、低分子等 医薬品の NME についても2017年に16品目と落ち 込んだものの直近3年は安定して承認されてお り、2020年は全NME (38品目) の76% (29品目) を占め、2019年に引き続いてバイオ医薬品 NME の約3倍もの承認を得ていた。

次に、新医薬品の全承認品目を対象に、希少疾 病用医薬品 (審査区分) の承認品目数の年次推移 を図7に示した。2020年の希少疾病用医薬品の承 認品目数は23品目(18%)であり、2019年より12 品目減少したものの、2010~2019年の平均承認品

図 5 バイオ医薬品承認品目数の年次推移



希少疾病用医薬品承認品目数の年次推移 図 7



目数(23品目)と同様であった。その内訳は、NME が8品目、NME 以外が15品目であった。2010~ 2020年の期間において、希少疾病用医薬品の承認 品目数が全承認品目数に占める割合は、2010年は 10%程度であったが、2018年には29%を占めるに 至り、2019年は品目数として過去最多の35品目が 承認されていた。NME に限ると2016年以降はそ の承認数は伸びておらず、直近4年は10品目前後 に留まっており、2020年の希少疾病用医薬品NME 数(8品目)は全NME 38品目の21%であった。

本項の最後に、新医薬品の全承認品目を対象と した抗悪性腫瘍薬の承認品目数の年次推移を図8 に示した100。2020年の抗悪性腫瘍薬の承認品目数 は45品目であり、2019年と比較して9品目増加し、 これは弊所が記録している2000年以降で最多の承 認数であった。2010~2020年の期間において、抗

低分子等医薬品承認品目数の年次推移

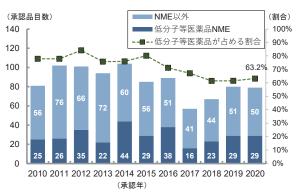


図8 抗悪性腫瘍薬承認品目数の年次推移



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 (図5~8)

¹⁰⁾ 本稿で用いた抗悪性腫瘍薬の定義: PMDAホームページ「新医薬品の承認品目一覧」にて「抗悪分野」と記載がある品目 (https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html) Accessed on Jan 26, 2021

表4 2020年までに承認された先駆け審査指定品目の対象品目(全10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		ゾフルーザ錠10 mg、同錠20 mg	第4	A 型又は B 型インフルエンザウイルス感染症	2015/10/27 (第1回)	2017/10/25	2018/2/23	4
2	ノーベルファーマ 株式会社	ラパリムスゲル 0.2%	第1	結節性硬化症に伴う皮膚病変	2015/10/27 (第 1 回)	2017/10/20	2018/3/23	5.1
3	アステラス製薬 株式会社	ゾスパタ錠40mg	抗悪	再発又は難治性のFLT3遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	2015/10/27 (第 1 回)	2018/3/23	2018/9/21	6
4	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
5	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	2018/3/27 (第3回)	2018/12/19	2019/6/18	5.9
6		ビルテプソ点滴静 注250mg	第3	エクソン53スキッピングにより治療可能な ジストロフィン遺伝子の欠失が確認されて いるデュシェンヌ型筋ジストロフィー	2015/10/27 (第 1 回)	2019/9/26	2020/3/25	5.9
7	ステラファーマ 株式会社	ステボロニン点滴 静注バッグ 9000mg/300mL	抗悪	切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌	2017/4/21 (第2回)	2019/10/15	2020/3/25	5.3
8		テプミトコ錠 250mg	抗悪	MET 遺伝子エクソン14 スキッピング変異 陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	2018/3/27 (第3回)	2019/11/12	2020/3/25	4.4
9	第一三共株式会 社	エンハーツ点滴静 注用 100 mg	抗悪	がん化学療法後に増悪した HER2 陽性の治 癒切除不能な進行・再発胃癌	2018/3/27 (第3回)	2020/4/28	2020/9/25	4.9
10		アキャルックス点 滴静注250mg	抗悪	切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌	2019/4/8 (第4回)	2020/3/26	2020/9/25	6

注:PMDA「医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表」に記載の品目を対象¹¹⁾

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

悪性腫瘍薬の承認品目数が全承認品目数に占める 割合は、2010年では全体の13%(13品目)を占め るのみであったが、以降右肩上がりに増加し、2020 年には全125品目の36%を占めるに至った。この期 間の抗悪性腫瘍薬承認品目の変化として、NME以 外の新効能医薬品等の品目数が大幅に増加してい ることが特徴であった。NME に関しては大幅に 承認数が伸びているわけではないが毎年着実に承 認を得ており、2020年の抗悪性腫瘍薬 NME は10 品目と、全 NME 38品目の26%を占めた。

先駆け審査指定制度の対象品目の承認と審査期間

2020年までに承認された先駆け審査指定制度の 対象品目を表4に示した。2020年、本制度の対象 品目として過去最多の5品目が承認された。

先駆け審査指定制度は、世界に先駆けて、革新 的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早 期に実用化すべく、その開発を促進するため、2015 年より試行的に実施されており、2020年までに全 10品目が本制度により承認された。申請会社の内 訳を見ると、それらの品目全てが異なる会社によ るものであった。また、審査分野別の内訳は、第 1-4分野に其々1品目ずつ、抗悪分野が6品目 と、抗悪分野が多いものの幅広い分野の品目が承 認されていた。

対象品目全体の審査期間中央値は5.2ヶ月(平均 値5.2ヶ月、標準偏差0.73)と、2020年の新医薬品 の優先審査品目の審査期間中央値7.7ヶ月と比較 して大幅に短い期間で審査処理されていた。品目 別で見ても全品目が6ヶ月以内の審査期間を示し ており、目標値とされる6ヶ月以内の承認が達成 されていた6)。また、これら対象品目について世 界での承認状況を確認したところ、NME につい ては全品目が世界に先駆けて日本で承認を得てお

¹¹⁾ PMDA「医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表」(https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/0003. html)

表5 2020年までに承認された特例承認に係る品目(全3品目)

	申請会社	製品名	効能・効果	申請日	承認日	審査期間 (日)
1	グラクソ・スミスク ライン株式会社	アレパンリックス(H1N1)筋注	新型インフルエンザ (H1N1) の予防	2009/10/6	2010/1/20	106
2		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		2009/11/6	2010/1/20	75
3	ギリアド・サイエン シズ株式会社	ベクルリー点滴静注液100mg/同点滴静 注用100mg	SARS-CoV-2による感染症	2020/5/4	2020/5/7	3

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

り、一部変更申請の品目についても先駆け審査指 定制度対象の効能・効果において、世界初の承認 を得ていた12)。

試行的運用がなされていた先駆け審査指定制度 は、2019年11月に改正薬機法が成立、2020年9月 に施行されたことで法制化され、新たに先駆的医 薬品指定制度として創設された。本制度は、患者 に世界で最先端の治療薬を最も早く提供すること を目指し、一定の要件を満たす画期的な新薬等に ついて、開発の比較的早期の段階から先駆的医薬 品に指定し、薬事承認に係る相談・審査における 優先的な取扱いの対象とするとともに、承認審査 のスケジュールに沿って申請者における製造体制 の整備や承認後円滑に医療現場に提供するための 対応が十分になされることで、更なる迅速な実用 化を図るものと明記されている13)。

特例承認に係る品目の承認とその審査期間

2020年までに承認された特例承認に係る品目を 表5に示した。2020年、現在も世界中で感染拡大 が続く「新型コロナウイルス (SARS-CoV-2) に よる感染症」を効能・効果として、「ベクルリー点 滴静注液100 mg、同点滴静注用100 mg」が特例承 認された140。その審査期間は3日であった。

特例承認とは、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第14条の3

第1項の規定に基づき、①疾病のまん延防止等の ために緊急の使用が必要、②当該医薬品の使用以 外に適切な方法がない、③海外で販売等が認めら れている、という要件を満たす医薬品について、 承認申請資料のうち臨床試験以外のものを承認後 の提出としても良い等として、特例的な承認をす る制度である。ただし、上記条件のいずれかに該 当しなくなったと認めるとき、又は保健衛生上の 危害の発生若しくは拡大を防止するため必要があ ると認めるときは、これらの承認を取り消すこと があると明記されている140。過去を遡ると、特例 承認に係る品目が承認されたのは、2010年に「新 型インフルエンザ(H1N1)の予防」を効能・効果 として承認された2つの輸入ワクチン以来のこと であった。それら2つのワクチンの審査期間は、 それぞれ106日 (3.5ヶ月)、75日 (2.5ヶ月) であ り、比較するとベクルリーの審査期間(3日)が いかに短期間であったかがわかる。

ここで、ベクルリー (一般名:レムデシビル) について日米欧の承認審査期間に関する情報を比 較整理したい。日本では、米国においてCOVID-19 に対するレムデシビルの緊急使用許可(EUA: Emergency Use Authorization) が得られたこと を受けて、5月4日に申請、5月7日に特例承認 を認めた。承認に当たり、「本剤の有効性及び安全 性に関する情報は極めて限られていることから、

¹²⁾ 明日の新薬(㈱テクノミック)、及び、各社公表情報をもとに医薬産業政策研究所調べ。2020年末時点で日本以外では 開発されていない品目を含む。

¹³⁾ 厚生労働省「先駆的医薬品指定制度について」 (https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iyakuhin/tp150514-01_00001.html)

¹⁴⁾ 厚生労働省「医薬品医療機器等法に基づくレムデシビル製剤の特例承認について」「レムデシビル製剤の使用に当たっ ての留意事項について」(令和2年5月7日)

現在進行中の治験又は臨床試験の成績が得られ次 第、当該成績をとりまとめて速やかに報告するこ と。」等の義務を課されていた¹⁴⁾。米国のEUAは、 薬剤の供給と緊急使用を許可する一時的な措置で あり、正式な新薬承認申請の提出、審査と承認の プロセスに代わるものではなく、緊急事態の原因 が終了、または薬剤が正式な新薬承認を受けた時 点で終了するものでありい、日本での特例承認が レムデシビルの世界で最初の法制上の承認となっ た。一方、米国においては、5月1日に上記EUA が認められた後、8月7日に新薬承認申請(New Drug Application)、10月22日に正式な承認を受け ていた16。また、欧州では、認可されていない薬 の使用を認めるコンパッショネートユースの推奨 (Compassionate use recommendation) が4月2 日に出され17)、4月13日から各種データの審査が 始まり、6月5日に販売承認申請 (Marketing Authorization Application)、7月3日に条件付き 承認 (Conditional Approval) を得ていた¹⁸⁾。この ように、日米欧各極それぞれの制度を活用しこの 難局に対処していたことがわかる。

2021年1月末時点、厚生労働省により新型コロ ナ感染症に対する治療薬として使用が認められて いるものは、ベクルリー、ステロイド薬のデカド ロン (デキサメタゾン)、血栓リスクに対応するた めのヘパリンの3剤となっている19。その他、治 験や特定臨床研究実施中のものは複数あるが、そ れらについては厚生労働省資料を参照いただきた V 200)

新再生医療等製品の承認品目とその審査期間

ここからは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6)。2020年、新再 生医療等製品として新たに2品目が承認され、 2020年までに承認された品目は全11品目(承認区 分として一部変更を含む。)となった。そのうち、 2020年の2品目を含む6品目が希少疾病用再生医 療等製品として承認されていた。また、2020年は 先駆け審査指定再生医療等製品として1品目が新 たに承認された。

新再生医療等製品の審査期間については、2020 年までに承認された対象品目全体の審査期間中央 値が11.7ヶ月(平均値15.6ヶ月、標準偏差10.4)で あった。また、医薬品医療機器等法(2014年11月 施行)により再生医療等製品のカテゴリーが新設 された後に承認された9品目については、審査期 間中央値が11.1ヶ月(平均値11.0ヶ月、標準偏差 3.2) となった。これらの結果を前述した2010~ 2020年の期間での新医薬品の審査期間と比較した ところ、大きな差は確認されなかった。

ただし、2020年に承認された2品目は希少疾病 用で優先審査の対象であり、そのうち1品目は先 駆け審査の対象となっていたが、それらの審査期 間はどちらも12ヶ月以上の期間を要した。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ヶ月以内に処理とされて おり6)、その目標を達成できたとは言い難い。特 に、先駆け審査指定の品目については、本制度の 主旨として「患者に世界で最先端の治療薬を最も 早く提供することを目指す」とあるが、米国での 承認 (2019年5月) から約10ヶ月遅れた。本件は、 厚生労働省「先駆的医薬品指定制度について」13) に記載された指定の取消要件「十分な事前評価を 受けずに申請された又は申請資料に相当の瑕疵が

¹⁵⁾ Food and Drug Administration (FDA): Emergency Use Authorization (https://www.fda.gov/emergencypreparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization)

¹⁶⁾ Food and Drug Administration (FDA): FDA Approves First Treatment for COVID-19 (https://www.fda.gov/newsevents/press-announcements/fda-approves-first-treatment-covid-19)

¹⁷⁾ European Medicines Agency: Compassionate use (https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/researchdevelopment/compassionate-use)

¹⁸⁾ European Medicines Agency: First COVID-19 treatment recommended for EU authorization (https://www.ema.europa.eu/en/news/first-covid-19-treatment-recommended-eu-authorisation)

¹⁹⁾ 新型コロナウイルス感染症診療の手引き第4.1版 (https://www.mhlw.go.jp/content/000712473.pdf)

²⁰⁾ 厚生労働省「新型コロナウイルス感染症について:治療薬の候補となる薬剤について(2020年12月23日版)」 (https://www.mhlw.go.jp/content/10900000/000709907.pdf) Accessed on Jan 25, 2021.

2020年までに承認された新再生医療等製品(全11品目)

	申請会社	製品名	効能・効果	審査区分	承認区分	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	重症熱傷	通常	承認	2004/10/6	2007/10/29	36.7
2	株式会社ジャパ ン・ティッシュ・ エンジニアリング	ジャック	膝関節における外傷性軟骨欠損症 又は離断性骨軟骨炎(変形性膝関節 症を除く)の臨床症状の緩和	通常	承認	2009/8/24	2012/7/27	35.1
3	テルモ株式会社	ハートシート	薬物治療や侵襲的治療を含む標準 治療で効果不十分な虚血性心疾患 による重症心不全の治療	通常	条件及び期 限付き承認 (期限:5年 ⇒3年延長)	2014/10/30	2015/9/18	10.6
4	JCR ファーマ株式 会社	テムセル HS 注	造血幹細胞移植後の急性移植片対 宿主病	希少疾病用	承認	2014/9/26	2015/9/18	11.7
5	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	先天性巨大色素性母斑	希少疾病用	一部変更 (適応追加)	2016/1/29	2016/9/29	8.0
6	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 (適応追加)	2018/3/20	2018/12/28	9.3
7	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 (期限:7年)	2018/6/29	2018/12/28	6.0
8	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
9	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 (期限:5年)	2018/1/22	2019/3/26	14.1
10	株式会社ジャパ ン・ティッシュ・ エンジニアリング	ネピック	角膜上皮幹細胞疲弊症	希少疾病用	承認	2019/3/20	2020/3/19	12.0
11	ノバルティスファーマ株式会社	ゾルゲンスマ 点滴静注	脊髄性筋萎縮症(臨床所見は発現していないが、遺伝子検査により脊髄性筋萎縮症の発症が予測されるものも含む)	先駆け審査 指定 希少疾病用	承認	2018/11/1	2020/3/19	16.6

出所:新再生医療等製品の承認品目一覧²¹⁾、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

あると判明した結果、我が国での早期の開発が達 成できなくなった場合」の厳格化に繋がった型。

考察とまとめ

本稿では、2020年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。加えて、2010~2020年に承 認された新医薬品に関する各区分別での経年分析 をおこなった。また、2020年秋に施行された先駆 的医薬品指定制度に関するこれまでの承認・審査 期間情報、現在も猛威を振るう新型コロナウイル スに対する治療薬に適応された特例承認に係る品 目に関する情報をまとめた。

日本で2020年に新医薬品として承認された品目 数は125品目であり、過去10年間の年平均承認品目 数より高い水準であった。その内訳を見ると、新 効能医薬品が2019年に比べて13品目増加するなど の特徴が見られた。承認された品目の審査期間に

²¹⁾ 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) ホームページ「新再生医療等製品の承認品目一覧」 (https://www.pmda.go,jp/review-services/drug-reviews/review-information/ctp/0004.html) Accessed on Jan 25, 2021.

²²⁾ 厚生労働省「2020年5月13日 中央社会保険医療協議会 総会 第458回議事録」 (https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000205879_00104.html)

関しては、その中央値は10.6ヶ月と、審査期間が 大幅に短縮した2011年以降では僅差ながらも最も 長いものであった。2020年は新医薬品の承認に関 しても COVID-19の影響が懸念されたが、承認さ れた品目数やその審査期間を見る限り最低限の影 響に留められていたことが確認できた。ただし、 COVID-19の流行により医療従事者の負担が増 え、被験者の感染リスクが高まったことで、臨床 開発に影響が出ているとの分析もあるため23)、 2021年以降の新薬承認状況を注視する必要がある だろう。

NME 承認品目に関する各区分別での経年分析 については、審査区分別での調査において優先審 査品目の割合が2014年をピークに減少する傾向が 見られた。これは優先審査対象となる希少疾病用 医薬品NME数の減少が要因の1つと考えられた。 一方、先駆け審査対象品目の承認数の着実な増加 は、患者および製薬企業にとっての光明であろう。 また、NME 承認品目数に関する内外資企業別の 調査からは、2017年から2019年にかけて内資企業 申請品目の承認割合が増加していることが確認さ れた。医薬品の研究開発が多様化・高度化する中、 近年の内資企業の研究開発への取り組みが功を奏 してきたとも考えられる。ただし、2020年はその 割合が若干の減少に転じていた。国内医薬品産業 振興の観点からも、2021年以降の再度の巻き返し を期待したい。

バイオ医薬品承認状況の経年分析からは、全承 認品目に占めるバイオ医薬品の割合が2010年と比 べて大きく伸びている要因として、NMEの承認 数増加よりも新効能医薬品やバイオ後続品の増加 の影響が大きいということが確認された。理由の 1つとして、抗体医薬品であるオプジーボやキー トルーダの事例のように、医薬品の作用機序から してそもそも汎用性がある医薬品が、この10年の 間に NME として複数承認され、その後に新効能

医薬品として数多く承認されたことが挙げられ る。また、1つの新薬、特にNMEの創出が容易 でない昨今を鑑み、多くの製薬企業が売上の拡大 を狙う方策の1つとして、入口としてはマーケッ トが小さくとも成功確率の高い標的疾患を選抜し 承認を得た後、効能追加によりマーケットの拡大 を狙うという開発戦略をおこなっている現状が表 れており、この戦略にバイオ医薬品がマッチした のかもしれない。また、バイオ後続品については、 2010~2020年の期間もバイオ医薬品 NME は着実 に増加しており、それら製品はいずれ特許期間や 再審査期間の満了を迎えることになるため、医療 費削減の政府の方針も相まって今後も安定的に承 認されていくと考えられる。

一方、低分子等医薬品の承認品目数については、 新医薬品の全承認品目数に占める割合が2010年か ら減少傾向にあったものの直近3年はその減少に 歯止めがかかり、そのうちの NME に関しては、 昨年、今年とバイオ医薬品 NME の約3倍もの承 認を得ていた。低分子医薬品は、標的分子の枯渇 や研究開発の高難易度化などから新薬創出のハー ドルが益々高まっていると言われて久しいが24)、 タンパク質間相互作用や RNA などの核酸を標的 とした低分子創薬の進展等による標的分子の拡大 により25、今後も着実に生み出されていくと思わ れる。また、今回の区分けでの低分子等医薬品の 定義はバイオ医薬品以外としており、2020年に承 認された「ビルテプソ点滴静注」のような化学合 成により製造される核酸医薬品も含めている。今 後、これら新規モダリティの発展による承認や審 査への影響についても注視していく必要があるだ ろう。

希少疾病用医薬品の承認状況については、2019 年に過去最多の承認品目数となっていた反動か、 2020年の承認品目数は大きく減少していた。ただ し、この減少が将来的に続くとは考えておらず、

²³⁾ 医薬産業政策研究所. 「医薬品産業におけるCOVID-19パンデミックへの対応と今後」 政策研ニュース No.61 (2020年11月)

²⁴⁾ 医薬産業政策研究所.「創薬化学の側面から見た低分子医薬の将来像-低分子から中分子への広がり-」リサーチペー パー・シリーズ No.72 (2018年5月)

²⁵⁾ Drug Discovery Chemistry VIRTUAL, MAY 18-20, 2021 (https://www.drugdiscoverychemistry.com/) Accessed on Feb 3, 2021

厚生労働省ホームページにて公開されている「希 少疾病用医薬品指定品目一覧表」26)を見ると、2020 年だけで49品目が希少疾病用医薬品指定を受けて おり、製薬企業等による希少難病で苦しむ患者さ んに向けた医薬品創出の取り組みは継続されてい ることがわかる。

抗悪性腫瘍薬の承認品目数については、2010年 以降右肩上がりに増えており、2020年は過去最多 の45品目が承認され、新医薬品の承認品目数全体 の36%を占めた。今回調査したデータを見ると、 着実に抗悪性腫瘍薬の開発は進められ、承認数も 年々増えていることがわかる。一方、国立がん研 究センターが公開している「国内で薬事法上未承 認・適応外である医薬品について」を見ると、米 国や欧州で承認されているが日本未承認または適 応外のがん領域の医薬品が未だにかなりの数ある ことがわかる

②

。日米欧でのドラッグラグの解消 が進んでいることは過去の分析から確認できては いるものの28)、この辺りの差異については今後の 検討課題としたい。

新医薬品の承認品目における先駆け審査指定制 度対象品目の承認と審査期間の調査からは、2020 年までに承認された全10品目全体の審査期間中央 値が5.2ヶ月、品目別で見ても全品目が6ヶ月以内 と非常に短い期間で審査処理されており、全品目 が世界に先駆けて日本で承認されていたことを確 認した。正式な審査を行ったうえでの短期間での 承認は、画期的な新薬を待ち望んでいる患者さん へのメリットだけでなく、企業にとってのインセ ンティブともなり、双方にとって望ましい結果で あった。また、審査期間の短縮を達成するために は審査側と申請側との協力体制が不可欠である が、本調査結果はこの協力体制がうまく機能して

いることを示唆している。本制度については、2020 年秋に先駆的医薬品指定制度として法制化・施行 されたことで、これまで年1回の指定だったもの が、年に2回程度(概ね4月及び10月)の指定を おこなうと公表されており、より良い制度となっ た13)。さらに厚生労働省は、小児用や薬剤耐性菌 治療用を対象とした医薬品の研究開発の促進に寄 与することを目的として、「特定用途医薬品」の指 定制度を創設し29)、未充足な領域への対策をうっ た。今後、製薬企業側はこれら制度を活用し、社 会的な要請に応えていく必要があるだろう。

特例承認に係る承認品目とその審査期間の調査 では、ベクルリーと過去のインフルエンザ (H1N1) 輸入ワクチンとの審査期間の比較、そし てベクルリーを例とした COVID-19に対する日米 欧の承認審査期間に関する情報整理から、今回の 特例承認対応の早さを再確認しただけでなく、日 本の特例承認と米国の緊急使用許可との違いや欧 州の対応の仕方にも調査の幅を広げ報告した。今 後の特例承認であるが、ファイザー社の新型コロ ナワクチン (mRNAワクチン) が2020年12月18日 に国内で承認申請されており³⁰⁾、2021年2月中に は特例承認を受けると報道されている。過去のイ ンフルエンザ (H1N1) 輸入ワクチンの際は2.5ヶ 月以上の審査期間を要しており、報道通りならば ワクチンとしては国内最速での承認となる。 COVID-19の収束に向け大いに期待するところで あるが、将来の新たな感染症も見据え、今後の COVID-19に関する承認品目も含めた更なる日米 欧各極の比較調査を進め、分析を深めていく必要 があるだろう。重篤な患者に用いられる治療薬、 軽度の患者に用いられる治療薬、感染前の人々に 用いられるワクチンとでは、薬効、血中動態、安

²⁶⁾ 厚生労働省「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要:希少疾病用医薬 品指定品目一覧表」(https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/000068484.html)

²⁷⁾ 国立がん研究センター「国内で薬事法上未承認・適応外である医薬品について」 (https://www.ncc.go.jp/jp/senshiniryo/iyakuhin/index.html) Accessed on Jan 29, 2021.

²⁸⁾ 医薬産業政策研究所.「世界の売上高上位300製品の上市状況の日米欧比較-ドラッグラグの解消は進んでいるか-」政 策研ニュース No.57 (2019年7月)

²⁹⁾ 厚生労働省「特定用途医薬品の指定制度について」(https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html)

³⁰⁾ 厚生労働省「新型コロナワクチンの開発状況について」 (https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000121431_00223.html)

全性など求められるハードルに違いがあり、さら に品目ごとに製剤面や大量・安定供給に向けた生 産体制などの課題を有するため、承認状況、開発 状況、各国のこの難局に対応するための制度など 含め、理解が難しい点が多々ある。

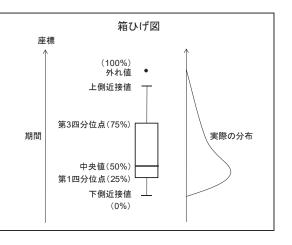
新再生医療等製品の承認品目と審査期間の調査 からは、2020年までに承認された全11品目(承認 区分として一部変更含む)の審査期間中央値が 11.7ヶ月であったことがわかった。承認品目の半 数以上(6品目)が希少疾病用再生医療等製品、 2品目が先駆け審査指定再生医療等製品として承 認されており、これまで治療が困難であった難病 に対する新たな治療選択肢としての地位を確立し つつある。ただし、新再生医療等製品はこれまで の新医薬品(低分子やバイオ医薬品)と異なる新 たなモダリティであるが故に生じる課題があるた め、PMDAの審査期間目標値もより幅を持たせて あり6)、実際に予定通りに審査が進んでいなかっ た品目も確認された。今後の状況であるが、2021 年1月末時点で既に承認された品目が1品目(イ エスカルタ点滴静注:承認日1月22日)、承認申請 中の品目が4品目あり31)、新再生医療等製品の承 認品目は増加していくと考えられる。また、2020 年承認品目は該当しなかったが、再生医療等製品 の特有の制度として「条件及び期限付き承認制度」 がある。この制度は、2014年11月に再生医療等製 品のカテゴリーが新設された際に導入され、これ

まで3品目に適応されている(表6)。均質でない 再生医療等製品については、有効性が推定され、 安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別 に早期に承認できる仕組みとなっており、その場 合、承認後に有効性・安全性を改めて検証する必 要があり、承認を受けたものは、期限内に使用成 績に関する資料等を添付して、再度承認申請を行 うことが求められている。つまり、治療法の乏し い患者への早期のアクセスを確保しつつも、市販 後に有効性が確認されない場合は承認を取り消す 法的根拠があり、科学的評価を追求しながら製品 の性質に対応した制度となっている。表6を見る と、対象の3品目は2023年~2025年にかけてその 期限を迎え再度承認申請を行うことになる。現在 承認申請中の品目も本制度の適応対象となる可能 性のある品目があり、申請中の4品目のうち3品 目は希少疾病用再生医療等製品に指定されている ことからも、新たな治療選択肢として早期の承認 が望まれる。

以上、2020年の承認品目とその審査期間調査と 共に、過去10年の動向と特徴的な制度の現況につ いて取りあげてきた。医薬品の研究開発が多様化・ 高度化する中、環境変化に対応し、患者さんの健 康や公衆衛生上の課題に貢献していくことを念頭 に、新たなイノベーションと価値が生み出されて いくことを期待する。

(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2、図3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。



31) 明日の新葉(㈱テクノミック)、及び、各社公表情報をもとに医薬産業政策研究所調べ。

国内主要製薬企業の海外売上高上位製商品の特徴

医薬産業政策研究所 主任研究員 中尾 朗

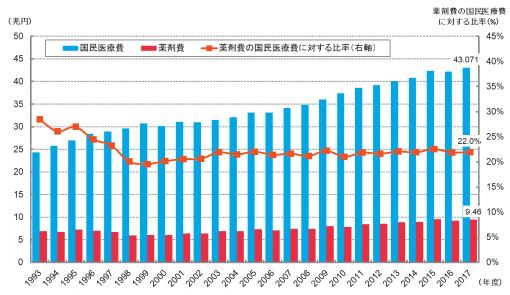
1. はじめに

図1は中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 (第159回)の資料をもとに日本における国民医療 費、薬剤費1)及びその比率の推移を示した図であ る。高齢化の進展に加え、医療の進歩、新技術の 導入といった要素も加わり、日本における国民医 療費は右肩上がりで増加してきた。そのような状 況下、この20年の間で薬剤費の国民医療費に対す る比率は20%程度で維持され、薬剤費は年間10兆 円を超えることなく推移してきている。2018年度 の薬価制度の抜本改革による長期収載品と後発医

薬品の薬価見直し、2021年度からの毎年薬価改訂 の実施、また後発医薬品のさらなる推進の流れ等 により、今後日本の医薬品市場が飛躍的に拡大し ていくとは考えにくい。

図 2 は IQVIA World Review Analyst 2010-2019をもとに世界の医療用医薬品の販売額推移を 13の国・地域に分けて示したものである。世界の 医療用医薬品の販売額は2010年から2019年までの 9年で年平均成長率は4.0%の増加を示している。 各国においては、英国が総販売額年平均成長率並 みの4.2%の増加を示しているものの、ドイツ、イ

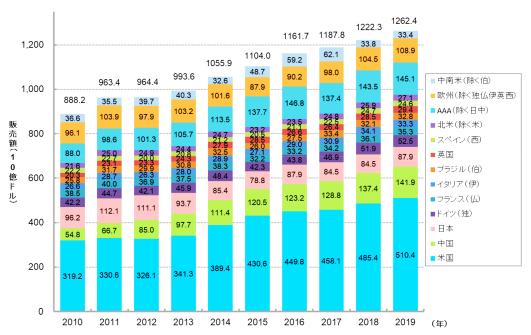
日本における国民医療費、薬剤費、薬剤費の国民医療費に対する比率の推移 図 1



出所:中央社会保険医療協議会 薬価専門部会(第159回)の資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

¹⁾ ここでの薬剤費は、労災等においても医療保険と同じ割合で薬剤が使用されたものと仮定し、国民医療費に医療保険に おける薬剤費比率をかけて推計している。DPCを始めとする薬剤費が入院料に包括して算定される場合の薬剤費は含ま れていない。

図2 世界の医療用医薬品の販売額推移(地域・国別)



注: AAA は、アジア・アフリカ・オーストラレーシアの略

出所: Copyright© 2021 IQVIA, IQVIA World Review Analyst 2010-2019をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載

タリア、スペインはそれ以下、日本とフランスに おいてはマイナス1%の年平均成長率を示してい る。その一方で、世界での販売額第一位の米国と 第二位の中国、そして日中を除くアジア諸国は年 平均増加率がそれぞれ5.4%、11%、5.7%と世界の 年平均成長率を上回っている。中でも米国は販売 額において他12の国・地域と比較し突出しており、 2019年の世界の医療用医薬品販売額の4割を占め る結果となっている2)。

このような日本を取り巻く世界環境下、日本を ベースにする製薬企業は成長戦略の1つとして、 医薬品の販路を広げるべく販売対象を日本国内か ら海外へと拡大させてきた。図3は国内主要製薬 企業(14社)の連結売上高合計と海外売上高30合 計及び海外売上高比率の推移を示したものであ

る4)。図からわかるようにいわゆる大手から準大 手と言われる国内製薬14社の連結売上高合計及び 海外売上高比率は増加トレンドを示しており、こ の2年は海外売上高の方が日本国内の売上高を上 回る結果となっている。また、14社を個別にみる と2011年度よりも2019年度の海外売上高及び連結 売上高対海外売上高比が大きいのは14社中13社で あった。単年の海外売上高という観点では2019年 度の海外売上高が1000億円を超えている企業は14 社中9社であり、この上位9社だけで2019年度の 海外売上高14社合計額(6兆2863億円)の95%以 上を占めていることがわかった。

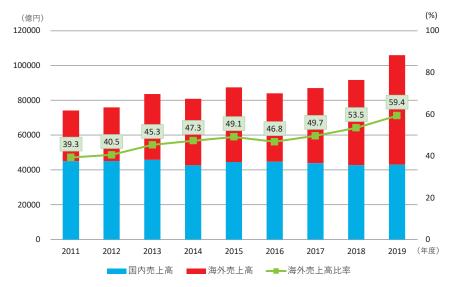
今回筆者は、国内主要製薬会社がどのような医 薬品を売ることによって海外売上高を伸ばしてい るかに興味を抱き、海外売上高上位9社の海外製

²⁾ 先行研究として、医薬産業政策研究所「医薬品市場における日本の存在感-日本企業の海外売上シェアの分析-」政策 研ニュース No.58 (2019年11月)、等がある。

³⁾海外売上高とは企業が自国以外で製品を販売、サービスを提供して得た売上高のことであり、これには販売売上の他、 輸出や海外企業からのライセンス料、ロイヤルティ収入、マイルストン収入を含む。

⁴⁾ SPEEDA (株式会社ユーザベース) の財務データ (2011年度から2019年度) を用い、売上高に占める医薬品事業の割合 が50%以上の国内上場企業で、連結売上高と海外売上高のデータを欠損なく取得できた14社を対象とした。だだし、2020 年2月に非上場会社となった田辺三菱製薬の2019年度財務データはホームページ上の決算情報から取得できたので対 象企業に加えた。

図3 国内主要製薬企業(14社)連結売上高合計と海外売上高比率推移



注:国内製薬企業14社:アステラス製薬、エーザイ、大塚ホールディングス(大塚HD)、小野薬品工業、協和キリン、参天 製薬、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、久光製薬、ゼリア新薬工業 出所: SPEEDA (株式会社ユーザベース) の財務データをもとに医薬産業政策研究所にて作成

商品に対し、その対象疾患、技術(モダリティ)、 開発地域、開発及び販売方法、創出起源等を調査 することにした5)。そしてそれら項目と売上高と の関係性について各社固有あるいは共通する特徴 が見いだせないか要因分析を行うことにした。

2. 調査方法

調査対象とした企業:

アステラス製薬、エーザイ、大塚ホールディング ス (大塚HD)、協和キリン、塩野義製薬、第一三 共、大日本住友製薬、武田薬品工業、中外製薬の 海外壳上高上位9社

データソース:

各社ホームページ上で公表している2020年3月期 决算報告資料(決算短信、決算短信補足資料、 DATABOOK、FACT シート等)、および2021年 3月期第2四半期決算報告資料を用いた。ただし、 大塚 HD、協和キリン、中外製薬については決算 月が12月であるため2019年12月期決算報告資料お よび2020年12月期第3四半期決算報告資料に記載

の情報を用いた。薬剤一般名、対象疾患領域、モ ダリティ、販売地域、上市年、創出起源等の追加 情報については明日の新薬(株式会社テクノミッ ク)、Cortellis Competitive Intelligence (クラリベ イト・アナリティクス)及び各社プレスリリース、 ATC分類は明日の新薬、KEGG DRUG Database⁶⁾ を用いた。

調查項目:

製商品名(一般名/代表的な商品名)、主な対象疾 患領域 (ATC 分類)、モダリティ、主販売地域、 海外売上額(2019年度実績および2020年度予想)、 海外上市年、創出起源(オリジン)及び海外開発 企業、フェーズⅢ以降の開発品とその開発ステー ジ(ステージ更新情報については2020年12月末日 までのプレスリリース情報等を反映)。

抽出品目数:

各社2019年度の海外売上製商品を売上高の大きい 順に選択した。海外売上高が大きい企業について は品目数を多めに選択し、最低でも医薬品事業売 上の5割以上となるまでピックアップ。

⁵⁾ 国内主要製薬企業の海外売上高比率に注目した記事がインターネットニュースメディア AnswersNewsに掲載されている。 https://answers.ten-navi.com/pharmanews/18516/

⁶⁾ KEGG DRUG DATABASE: https://www.genome.jp/kegg/kegg_ja.html

表 1 各社の代表的な海外売上高上位製商品一覧

企業名	製商品名(例)/一般名	主対象疾患領域。 ATC 分類	느	モダリティ	主売上地域 (金額ベース)		額 (億円) 2020年度	上市年(海外)	オリジン/海外主開発企業
	イクスタンジ/エンザルタミド	抗腫瘍薬	L	低分子	米国、欧州、中国、他	3642	4257	2012	Medivation (現 Pfizer) /自社、Medivation
	プログラフ/タクロリムス水和物	免疫抑制剤	L	低分子	米国、欧州、中国、他	1486	1415	1994	自社/自社
	ベタニス/ミラベグロン	泌尿器疾患	G	低分子	米国、欧州、中国、他	1273	1337	2012	自社/自社
アステラス 製薬	Lexiscan/レガデノソン	虚血性心疾患 診断補助	С	低分子	米国	694	626	2008	CV Therapeutics (現 Gilead Sciences) / CV Therapeutics
	ハルナール/タムスロシン塩酸塩	泌尿器疾患	G	低分子	欧州、中国、他	386	365	1995	自社/自社
	ファンガード/ミカファンギンナトリウム	抗真菌薬	J	低分子	米国、欧州、中国、他	276	195	2005	自社/自社
	ベシケア/コハク酸ソリフェナシン	泌尿器疾患	G	低分子	米国、欧州、中国、他	245	129	2004	自社/自社
	レンビマ/レンバチニブメシル酸塩	抗腫瘍薬	L	低分子	アメリカス、EMEA、中国、 アジア・ラテンアメリカ	988	1430	2015	自社/自社
	ハラヴェン/エリブリンメシル酸塩	抗腫瘍薬	L	低分子	アメリカス、EMEA、中国、 アジア・ラテンアメリカ	310	325	2011	自社/自社
	イノベロン/ルフィナミド	精神疾患	N	低分子	アメリカス、EMEA	254	118 (* 1)	2007	Novartis/自社
	メチコバール/メコバラミン	末梢神経障害	В	低分子	中国、アジア・	241	140 (* 1)	1991	自社/自社
エーザイ	メテュハール/ メュハケミン				ラテンアメリカ 中国、アジア・				
	アリセプト/ドネペジル塩酸塩	神経疾患	Ν	低分子	ラテンアメリカ	216	250	1997	自社/自社
	フィンコパ/ペランパネル水和物	精神疾患	Ν	低分子	アメリカス、EMEA、中国、 アジア・ラテンアメリカ	214	240	2012	自社/自社
	ライセンス収入及び医薬品原料などに係る 事業	レンビマに	関す	ーるマイルストン	、一時金等収入含む	1184	1020	-	
	エビリファイ、エビリファイ メンテナ/アリピブラゾール	精神疾患	N	低分子	北米、欧州、他	1175	1315	2002	自社(大塚製薬) /自社、Bristol-Myers Squibb、 Lundbeck
大塚 HD	レキサルティ / ブレクスピラゾール	精神疾患	Ν	低分子	北米、欧州、他	815	925	2015	自社(大塚製薬) /自社、Lundbeck
	サムスカ、ジンアーク/トルバプタン	循環器・腎領域	С	低分子	北米、欧州、他	817	1025	2009	自社(大塚製薬)/自社
	ロンサーフ/トリフルリジン、チピラシル塩酸	抗腫瘍薬	L	低分子	北米、欧州、他	289	345	2015	自社(大鵬薬品) /自社、Servier
	クリースビータ/ブロスマブ	骨疾患	Μ	抗体	北米、欧州、他	325	511	2018	自社/Ultragenyx、自社
協和	アブストラル/フェンタニルクエン酸	がん性疼痛	Ν	低分子(舌下錠)	欧州	112	97	2008	Janssen/自社 (ProStrakan)
キリン	ポテリジオ/モガムリズマブ	抗腫瘍薬	L	抗体	米国、欧州	108	100	2018	自社/自社
	ファセンラ/ベンラリズマブ	気管支喘息	R	抗体	導出	89	162 (* 2)	2017	自社/AstraZeneca
塩野義 製薬	テビケイ、トリーメク、ジャルカ、ドウベイト (HIV フランチャイズ) /ドルテグラビルナトリウムを含有する製剤、配合剤	抗ウィルス薬	J	低分子	導出	1281	1263	2013	自社/ViiV Healthcare
34314	クレストール/ロスバスタチンカルシウム	代謝疾患	С	低分子	導出	223	169	2003	自社/AstraZeneca
	オルメテック/オルメサルタン メドキソミル	抗高血圧薬	С	低分子	米国、欧州、他(輸出)	745	671	2002	自社/自社
	リクシアナ/エドキサンバン	抗血液凝固薬	В	低分子	米国、欧州、他	710	853	2015	自社/自社
第一三共	インジェクタファー /カルボキシマルトース鉄	抗貧血薬	В	低分子	米国	518	466	2013	Vifor Pharma/自社(アメリカ ン・リージェント)
A -X	ヴェノファー/ショ糖鉄	抗貧血薬	В	低分子	米国	310	281	2000	Vifor Pharma/自社(アメリカ ン・リージェント)
	エンハーツ/トラスツズマブ デルクステカン	抗腫瘍薬	L	抗体・	米国、他(導出関連収入)	140	415	2020	自社
	ラツーダ/ルラシドン塩酸塩	精神疾患	N	薬物複合体 低分子	北米	1895	1990	2011	/自社、AstraZeneca 自社/自社
			R	低分子	北米	345	1990		自社 (Sunovion)
大日本住友		COPD	1/						/自社 (Sunovion)
製薬	メロペン/メロペネム水和物 アプティオム/エスリカルバゼピン酢酸エ	抗生剤	J	低分子	中国、他	322	282	1994	自社/自社、AstraZeneca
	ステル	精神疾患	Ν	低分子	北米	234	246	2014	Bial/自社 (Sunovion)
	エンティビオ/ベドリズマブ	消化器系疾患	L	抗体	北米、欧州、その他		2030(* 1)	2014	自社(Millennium)/自社
	ガンマガード/免疫グロブリン	免疫不全症候群	J	血漿分画製剤	米国	2987	1627(* 1)	1994	Baxter/Baxter
	ビバンセ/リスデキサンフェタミンメシル 酸塩	精神疾患	Ν	低分子	北米、欧州、その他	2737	1326(* 1)	2007	自社 (Shire) /自社 (Shire)
計田並口	アドベイト/ルリオクトコグ アルファ	血友病	В	タンパク製剤	北米、欧州、その他	1508	600(*1)	2003	Baxter/Baxter
武田薬品 工業	ベルケイド/ボルテゾミブ	抗腫瘍薬	L	低分子	米国	1183		2003	自社 (Millennium) 自社 (Millennium)
	ニンラーロ/イキサゾミブクエン酸エステル トリンテリックス	抗腫瘍薬	L	低分子	北米、欧州、その他	728	420(* 1)	2015	自社 (Millennium) / 自社 Lundbeck
	/ボルチオキセチン臭化水素酸塩	精神疾患	N	低分子	米国	703		2014	/自社、Lundbeck
	Takhzyro/ラナデルマブ リュープリン/リュープロレリン酢酸塩	血管性浮腫 抗腫瘍薬	B L	抗体 ペプチド製剤	北米、欧州、その他北米、欧州、その他	683 683	437(* 1) 297(* 1)	2018 1985	自社 (Shire) /自社 (Shire) 自社/自社
	アクテムラ/トシリズマブ	加胆痨来 自己免疫疾患	L	抗体	主にRocheへの輸出	883	908	2009	自社/Roche、自社
	アレセンサ/アレクチニブ塩酸塩	抗腫瘍薬	L	低分子	主に Roche への輸出	453	390	2009	自社/Roche
中外製薬	ノイトロジン/レノグラスチム	抗腫瘍薬	L	タンパク製剤	欧州	99	91	1994	自社/自社、Sanofi
	ヘムライブラ/エミシズマブ	血友病	В	抗体	主に Roche への輸出	36	239	2017	自社/Roche
İ	ロイヤルティ等収入及びその他の営業収益		-		イルストン収入等含む	973	1600	-	
分: ATC A	類は次の通り:B血液と造血器官;C循環器		_			h 疟 遊 · T	公田州語官	並し缶。	5. 细饮************************************

注:ATC 分類は次の通り:B 血液と造血器官:C 循環器系:D 皮膚科用薬:G 泌尿生殖器系と性ホルモン:J 全身性抗感染症薬:L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬:M 筋骨格系:N 神経系:R 呼吸器系。プログラフの ATC 分類はL と D であったが、ここではL を選択した。ATC 分類コードが付与されていない製品については類縁医薬品から予想されるものを採用した。(*1):2021年3月期第2四半期までの実績値、(*2):2020年12月期年第3四半期までの実績値。

出所:各社決算報告資料、明日の新薬(株式会社テクノミック)、Cortellis Competitive Intelligence(クラリベイト・アナリティクス)及びKEGG DRUG Database をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

3. 結果

アステラス製薬の2019年度の海外売上上位製品 は順に、イクスタンジ、プログラフ、ベタニス、 Lexiscan、ハルナール、ファンガード、そしてベ シケアと続いている。2020年度の売上予想額は、 抗腫瘍薬であるイクスタンジが大きく売り上げを 伸ばす予想値となっている一方で、特許切れによ る独占販売期間が切れたプログラフ、ハルナール、 ファンガード、ベシケアは徐々にその海外売上額 を減らしている。イクスタンジ及びLexiscanは導 入品であるが、主に低分子の自社オリジン医薬品 を自社で海外開発し、自社販売網を通じて販売し ていることが特徴である。

エーザイの2019年度の海外売上上位製品は抗腫 瘍薬であるレンビマ、ハラヴェンを筆頭に、精神 神経疾患治療薬のイノベロン、メチコバール、ア リセプト、フィンコパが続いている。2020年度は レンビマの売上高がさらに増加すると予想されて いる。すでに特許が切れているアリセプトの主販 売領域が欧米から中国を含めたアジア、ラテンア メリカへとシフトしている。レンビマの販売額の 増加だけでなく、レンビマに関するマイルストン、 一時金収入を含むライセンス収入及び医薬品原料 などに係る事業も海外売上高に大きく貢献してい る。がん疾患及び中枢神経系疾患を柱とした自社 オリジンの低分子医薬品を自社販売網を通じて海 外展開している。

大塚 HD の2019年度の海外売上上位製品は大塚 製薬のエビリファイメンテナを含めたエビリファ イ関連製品、精神疾患治療薬のレキサルティ、希 少疾病の常染色体優性多発性嚢胞腎への追加効能 を持つサムスカ、ジンアークと大鵬薬品の抗腫瘍 薬であるロンサーフが続いている。2020年度はジ ンアークの売上高の伸長が予想されている。いず れの製品も自社オリジンの低分子医薬品であり、 海外自社開発を経て欧米を中心に自社販売展開し ている。

協和キリンの2019年度の海外売上上位製品は骨 疾患治療薬のクリースビータ、子会社の製品であ るアブストラル、抗腫瘍薬のポテリジオ、導出品 であるファセンラと続いている。2020年度はファ

センラの売上高の大幅な増加が予想されている。 ProStrakan社(現Kvowa Kirin)の開発製品であ ったアブストラルを除く製品は自社オリジンの抗 体医薬品であり、海外の自社販売網を通して販売 を行っている。一方自社オリジンの抗体医薬品の ファセンラについては AstraZeneca へ導出しロイ ヤルティ収入を得る形となっている。

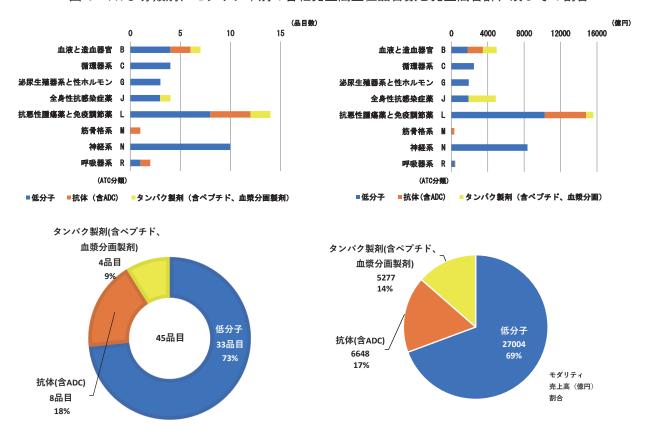
塩野義製薬の2019年度の主な海外売上高はHIV フランチャイズ製品であるテビケイ、トリーメク、 ジャルカ、ドウベイトの導出に関連するものと、 代謝疾患薬のクレストールの導出関連収入であ る。2020年度は、クレストールに関しては特許切 れに伴い売上高は減少するが、HIVフランチャイ ズ製品については前年と同程度の売上高が予想さ れている。

第一三共の2019年度の海外売上高上位製品は高 血圧薬のオルメテック、抗凝固薬のリクシアナ、 抗貧血薬のインジェクタファー及びヴェノファー と続いている。海外子会社のアメリカン・リージ エントの製品以外は自社オリジンかつ自社開発品 の低分子医薬品である。2020年度は自社オリジン で AstraZeneca との共同開発している抗体・薬物 複合体 (ADC) 医薬品であるエンハーツが海外売 上高に大きく寄与すると予想されている。

大日本住友製薬の2019年度の海外売上高上位製 品は精神疾患治療薬のラツーダ、COPD薬のブロ バナ、抗生剤のメロペン、抗てんかん薬のアプテ ィオムと続き、2020年度も同様の売上高が予想さ れている。自社オリジンの自社開発品ラツーダを 北米に拠点を持つ子会社Sunovionが販売し、メロ ペンは中国、他で自社販売している。製品はいず れも低分子医薬品となっている。

武田薬品工業の2019年度の海外売上高上位製品 は、炎症性腸疾患薬のエンティビオ、血液分画製 剤のガンマガード、精神疾患薬のビバンセ、トリ ンテリックス、血友病薬のアドベイト、抗腫瘍薬 のベルケイド、ニンラーロ、リュープリン、遺伝 性血管性浮腫治療薬である Takhzyro、などであ る。トリンテックスはルンドベックから導入後、 米国での開発権を得た製品であり、リュープリン は自社オリジンのペプチド製剤であるが、それ以

図4 ATC 分類別、モダリティ別の各社売上高上位品目数と売上高合計、及びその割合



注1:プログラフの ATC 分類はLとD(皮膚科用薬)であったが、ここではLを選択した。

注2:便宜的に、エーザイのライセンス収入及び医薬品原料などに係る事業の売上高は「レンビマ」の売上高に、中外製薬

のロイヤルティ等収入及びその他の営業収益は「ヘムライブラ」の売上高に加えた。

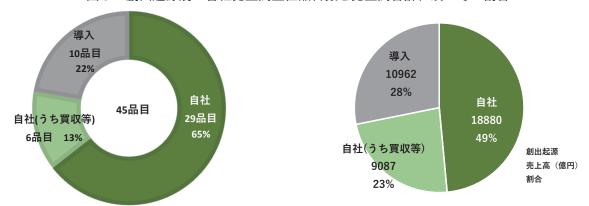
出所:表1をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

外の製品は海外企業の買収によって加わったもの となっており、疾患領域及びモダリティも多種多 様である。

中外製薬の2019年度の海外売上高上位製商品 は、自己免疫疾患治療薬のアクテムラ、抗腫瘍薬 のアレセンサであり、主に親会社である Rocheへ の輸出による収入である。それ以外に海外売上高 に大きく寄与したものとしてはロイヤルティ等収 入及びその他の営業収益であり、この中には血友 病薬のヘムライブラに関するマイルストン収入等 が含まれている。2020年度はヘムライブラの輸出 額が拡大するとともにロイヤルティ等収入の増加 が予想されており、海外売上高の大幅な増加が見 込まれている。アレセンサは自社オリジンの低分 子医薬品であるが、アクテムラ、ヘムライブラは 自社オリジンの抗体医薬品である。

海外売上高上位の国内製薬9社の海外売上上位 製商品群及び対象疾患、オリジン、モダリティ、 等を調査した結果、主対象疾患としては8つの ATC分類に分かれていたが、抗悪性腫瘍薬及び免 疫調節薬(ATC分類L)と神経系(ATC分類N) がそれぞれ14 (うち抗悪性腫瘍薬11)、10と2分類 で過半数を超えていた。売上高という点において も抗悪性腫瘍薬及び免疫調節薬が一番大きく、次 いでと神経系と続いていた(図4上段)。またモダ リティ別の品目数、売上高では、低分子の割合が 全体の約7割を占めていることがわかった(図4 下段)。2019年世界売上高上位100品目に占める化 学合成医薬品(低分子、核酸、ペプチド等)の品 目数割合が48%であったこと、薬効分類別では品 目数の多い順に、抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬、消 化管と代謝作用 (ATC 分類 A)、神経系、全身用 抗感染症であり、売上金額面でも同様の序列であ

創出起源別の各社売上高上位品目数と売上高合計、及びその割合



注1:45品目に占める自社29品目は割合にすると64.4%であるが、合計を100%とするため便宜上65%とした。

注2:エーザイのライセンス収入及び医薬品原料などに係る事業の売上高、および中外製薬のロイヤルティ等収入及びその

他の営業収益は「自社」の売上高に加えた。 出所:表1をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

ったこと7)から、今回低分子の占める割合が高か ったこと、及び消化管と代謝作用(ATC 分類 A) が含まれていなかったことなどが特徴と言える。

販売地域という点では売上額が1000億円を超え るいわゆるブロックバスターの売上地域はすべて 米国が含まれていた。今回調査の対象になった9 社の各社売上高上位製商品一覧に占める自社オリ ジンの品目数割合は約8割(35/45=78%)であっ た(有効成分分子をカウント)。そのうち買収等に より結果的に自社オリジンとなったものを除くと 64%となった(29/45)(図5左)。創出起源と売上 高という点では買収等により自社オリジンとなっ たものを含めると、自社オリジンが72%を占めて いた(図5右)。導出品(及び輸出を主とする製商 品) においては、そのほとんどの品目が導出(輸 出) 先企業でブロックバスター化しており8)、自 社販売あるいは導出先でブロックバスターとなっ ている品目の自社オリジン割合(買収等含む)は 8割となることがわかった。なお、2020年の世界 の製薬企業で R&D 品目の多いトップ25社の自社 オリジンの開発品割合は約55%であった90。また、 トップ25社に含まれる日本企業5社の開発品目数 を足し合わせたときの自社オリジン割合は約52%

であった100。これらを踏まえると、9社の各社売 上高上位製商品一覧に占める自社オリジンの品目 数割合78%という値は高い数字であると言えるで あろう。

次に、前述の国内製薬9社に対して海外開発が 行われている臨床後期開発品目の調査を行った。 表2に2021年3月期第2四半期決算報告時点(大 塚 HD、協和キリン、及び中外製薬は2020年度12 月期第3四半期決算報告時点) におけるフェーズ Ⅲ以上の海外開発品と2020年度に上市あるいは承 認を受けた新有効成分開発品 (NME: New Chemical Entity) をまとめた (ただし、開発品のステー ジ更新については2020年12月末日までのプレスリ リース情報を反映させた)。

大部分が未承認の段階であるので各社の開発品 の詳細は省略するが、主適応疾患としては7つの ATC分類に分かれており、抗悪性腫瘍薬と免疫調 節薬(ATC分類L)10件、神経系(ATC分類N) 9件と2分類で6割弱を占めることがわかった。 モダリティ別では低分子がLとNでそれぞれ7 件、6件であった(図6上)。9社のNMEに占め る低分子化合物の割合は64%(21/33)であった。 売上高上位品に限定した製商品を記載した表1と

⁷⁾ 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍-2019年の動向-」政策研ニュース No.61 (2020年11月)

⁸⁾ 導出先企業の2019年度アニュアルレポート及びファイナンシャルレポートより。

⁹⁾ Citeline: Lloyd I. Pharma R&D Annual Review 2020. Source: Pharmaprojects®, January (2020).

¹⁰⁾ 日本企業5社は、武田薬品工業、大塚 HD、第一三共、エーザイ、及びアステラス製薬である。

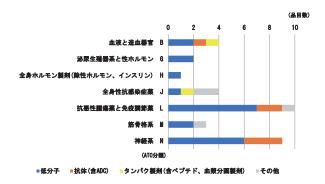
表2 PhaseIII以上の海外開発品及び2020年度に承認、上市された医薬品一覧(新有効成分含有医薬品のみ)

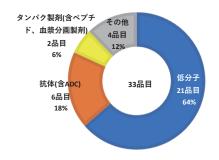
企業名	一般名/開発コード	ステージ	主適応疾患 ATC タ		モダリティ	開発地域	オリジン会社/開発会社	備考
	ゾルベツキシマブ/IMAB362	P3	胃がん	L	抗体	グローバル	自社(Ganymed)/自社	
アステラス	ロキサデュスタット /ASP1517	申請	腎性貧血	В	低分子	欧州	FibroGen/自社	日本2019/11上市
製薬	fezolinetant/ESN364	P3	更年期に伴う血管 運動神経症状	G	低分子	グローバル	自社(Ogeda)/自社	
	ペフィシチニブ/ASP015K	Р3	関節リウマチ	М	低分子	中国	自社/自社	日本2019/07上市
	レンボキサント/E2006	上市	不眠症	N	低分子	米国、欧州、 日本、中国	自社/自社	米国2020/06上市
	アデュカヌマブ/BIIB037	申請	アルツハイマー病	N	抗体	米国、欧州、 日本	Neurimmune/Biogen、自社	
エーザイ	lecanemab/BAN2401	Р3	アルツハイマー病	N	抗体	米国、欧州、 日本、中国	BioArctic AB/Biogen、自社	
	E2027	P2/3	レビー小体型認知 症	N	低分子	米国、欧州、 日本	自社/自社	
	エリトランナトリウム /E5564	P3	COVID-19	J	中分子 (糖脂質)	米国	自社/GCAR、自社	GCAR: Global Coalition for Adaptive Research
	decitabine · cedazuridine / ASTX727	承認	血液がん	L	低分子	米国、欧州、 日本、他	自社(Astex)/自社	米国2020/07承認
大塚 HD	重水素化デキストロメトルファン・キニジン/AVP-786	P3	精神疾患	N	低分子	米国、欧州	自社(Avanir)/自社	
	センタナファジン/EB-1020	P3	ADHD	Ν	低分子	米国	自社(Neurovance)/自社	
	バダデュスタット /AKB-6548	Р3	腎性貧血	В	低分子	米国、欧州	Akebia/自社	日本2020/08上市 (田辺 三菱製薬)
協和キリン	Evocalcet/KHK7580	Р3	二次性副甲状腺機 能亢進症	Н	低分子	中国、韓国、 台湾、香港	田辺三菱製薬/自社	日本2018/05上市
	キザルチニブ塩酸塩/AC220	Р3	血液がん	L	低分子	米国、欧州、ア ジア	自社(Ambit Biosciences)/ 自社	日本2019/10上市
第一三共	datopotamab deruxtecan /DS-1062	Р3	肺がん	L	抗体・ 薬物複合体	米国、欧州、 アジア、日本	自社/自社、AstraZeneca	
	ミロガバリンベシル酸塩 /DS-5565	Р3	神経障害性疼痛	N	低分子	中国	自社/自社	日本2019/04上市
	SEP-363856	P3	統合失調症	N	低分子	米国	自社 (Sunovion) /自社	
	レルゴリクス	承認	前立腺がん	L	低分子	米国、欧州	武田薬品工業/自社(Myovant)	日本2019/03上市(あす か製薬)
大日本住友 製薬	ナパブカシン/BBI608	Р3	結腸直腸がん	L	低分子	米国、日本	自社 (Boston Biomedical) / 自社	
	RVT-802	申請	免疫不全症	L	細胞治療	米国	デューク大学/自社(Enzy- vant)	
	ビベグロン	承認	過活動膀胱	G	低分子	米国	Merck/自社 (Urovant)	日本2018/11上市(キョーリン製薬)
	ペボネジスタット塩酸塩 /TAK-924	Р3	血液がん	L	低分子	グローバル	自社(Millennium)/自社	
	mobocertinib/TAK-788	Р3	肺がん	L	低分子	グローバル	自社(Ariad)/自社	
	レルゴリクス/TAK-385	Р3	前立腺がん	L	低分子	中国、日本	自社/自社	日本2019/03上市 (あすか製薬)
武田薬品工業	TAK-755	P3	血栓性血小板減少 性紫斑病	В	血漿タンパク	米国、欧州	化血研/自社	
	maribavir/TAK-620	Р3	CMV 感染症薬	J	低分子	米国、欧州	GlaxoSmithKline/自社	
	CoVIg-19	P3	COVID-19	J	血漿分画製剤	米国、欧州、 日本	自社 /CoVIg-19 Plasma Alliance	
	TAK-003	P3	デング熱予防	J	ワクチン	米国、英国、他	自社(Inviragen)/自社	
	エンスプリング/SA237	上市	視神経脊髄炎	N	抗体	導出 (グローバル)	自社/Roche	米国2020/08承認 日本2020/08上市
中外製薬	クロバリマブ/SKY59	P3	発作性夜間へモグ ロビン尿症	В	抗体	導出 (グローバル)	自社/Roche	
	エルデカルシトール/ED-71	承認	骨粗鬆症	М	低分子	中国	自社/自社	日本2011/04上市
	ヒアルロン酸ナトリウム /NRD101	P3	変形性膝関節炎	М	局所注射 (ムコ多糖)	中国	デンカ/自社	日本2000/08上市
注·ATC 公箱は	をの通り・D 血液と生血思言・C:	0尺开始里:	でレ州ナルエンII △I	5 -1 -1	してン制刻 州土	ルエンレインフロ	ンを除く: 全身性抗感染症薬:	1 位更併膳官並し名広調祭

注:ATC 分類は次の通り:B 血液と造血器官:G 泌尿生殖器系と性ホルモン H 全身ホルモン製剤、性ホルモンとインスリンを除く:J 全身性抗感染症薬:L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節 薬:M 筋骨格系:N 神経系:R 呼吸器系。ATC 分類コードが付与されていない製品については類縁医薬品から予想されるものを採用した。塩野義製薬は対象となる開発品が無か ったため表中の記載はない。各社の開発品ステージアップ情報については2020年12月末日までの情報を反映。 出所:各社決算報告資料、明日の新薬(株式会社テクノミック)、Cortellis Competitive Intelligence (クラリベイト・アナリティクス)、各社プレスリリース及びKEGG DRUG Database

をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

図6 ATC分類別、モダリティ別の各社海外後期 開発品目数合計





注:その他は「細胞治療」、「ムコ多糖」、「糖脂質」、「ワク チン | をそれぞれ1つずつ含む。

出所:表2をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

各社後期開発品の創出起源



注:33品目に占める自社11品目は割合にすると33.3%であ るが、合計を100%とするため便宜上34%とした。 出所:表2をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

単純に比較することはできないが、開発後期品の モダリティにおいても低分子が過半数を占める結 果であった11)(図6下)。

創出起源という点では、後期開発品の自社オリ

ジン割合は67% (22/33) であったが、買収等によ り自社オリジンとなったものを除くとその割合は 半数の33% (11/33) であった (図7)。

4. まとめ

海外売上高が大きい国内主要製薬上位9社にお ける、2019-2020年度の海外売上上位製商品と海 外後期開発品について調査、分析を実施した。現 時点において国内の製薬9社の海外売上高上位品 で最も多いモダリティは低分子であり、売上額と いう観点でも低分子が約7割を占めていた。主疾 患領域については、品目数、売上高いずれにおい ても抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬及び神経系薬が高 い割合を占めることがわかった。開発販売方法と いう点では、自社の販売網を通じて自社オリジン の開発品や他社からの導入品を販売しているケー ス、自社オリジンの開発品を主に海外企業に導出、 あるいは親会社に導出することによってマイルス トン、ロイヤルティ等収入を得て海外売上を得て いるケース、あるいは自社オリジンの製品を海外 製薬企業と共同で開発、販売することで売上販売 金とマイルストン、ロイヤルティ収入を得るとい ったケースなど、海外売上上位9社のなかでもそ の方法はさまざまであった。販売地域では、海外 においてブロックバスター化している製品はそれ ら売上地域に必ず米国を含んでいた。導出品は導 出先でほぼブロックバスターとなっていた。そし て創出起源という点においては主要国内9社の海 外売上高上位品は自社オリジンの割合が品目数、 売上高の両面において高い傾向を示していること がわかった。ただ、今回のデータは2019-2020年 度の国内9社の海外売上高上位製商品に限定した スナップショットであることから、より厳密な要 因分析を行うためには、海外売上高上位製商品に 含めなかった他品目ならびに国内の製商品の情報 を加え、経年的に分析していく必要があると思わ れる。

¹¹⁾ エリトランは分子量が約1400の糖脂質分子であることから中分子と分類した。そのため低分子に含めていない。

政 策 研 だ よ り

主な活動状況(2020年11月~2021年2月)

11月	1 日	政策研ニュース No.61列	6行
	21日	発表	「新型コロナウイルス克服への創薬動向の分析」 医薬産業政策研究所 所長 長岡貞男、主任研究員 鍵井英之 (日本応用経済学会2020年度秋季大会「コロナ企画セッションI」)
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 統括研究員 伊藤稔 (成城大学『政策イノベーション特殊講義』)
1月	12日	講義	「医療健康分野のビッグデータの活用」 医薬産業政策研究所 主任研究員 中塚靖彦 (北里大学『医薬開発学特論Ⅱ』)
2月	17日	講演	「ボストンのイノベーション・エコシステム」 医薬産業政策研究所 主任研究員 鍵井英之 (2020年度第2回 バイオビジネス推進協議会)
	24日	講演	「デジタルテクノロジーの進展と医療ヘルスケアのパラダイムシフト」 医薬産業政策研究所 主任研究員 佐々木隆之 (日本ライセンス協会 2021年度 第一回ヘルスケア WG 勉強会)

レポート・論文紹介(2020年11月~)

医療と社会 Vol.30 No.3 2020 (2020年12月25日発行)

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

(2019年11月8日開催 医療科学研究所 産官学少人数懇談会での講演録)

医薬産業政策研究所 元統括研究員 森田正実

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 2021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/