

政策研ニュース No.69

OPIR Views and Actions

2023年7月

目次

Topics

- ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その1 ―希少疾患―
医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎
医薬産業政策研究所 主任研究員 東 宏
医薬産業政策研究所 元主任研究員 吉田 昌生……1
- ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その2 ―抗がん剤―
医薬産業政策研究所 主任研究員 東 宏
医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎……7

Opinion

- デジタルセラピューティクス（DTx）がもたらす価値を考える
医薬産業政策研究所 主任研究員 辻井 惇也……15

Points of View

- デジタルセラピューティクス（DTx）のアウトカム測定ツールの動向
―臨床試験データベースを用いた調査―
医薬産業政策研究所 主任研究員 辻井 惇也……30
- ゲノム情報を研究利用する際の情報の流れ
医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田 法大……39
- 製薬産業の立場から見た介護に関するトピックス
医薬産業政策研究所 統括研究員 伊藤 稔……49
- 日本の大手製薬企業のパイプライン分析 ～自社オリジンと外部導入の比較～
医薬産業政策研究所 主任研究員 高橋 洋介……60
- 医療費の節約に関する国民の意識と行動
―医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その④―
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉田 晃子……69
- 費用対効果評価における価格調整部分の評価
医薬産業政策研究所 主任研究員 三浦 佑樹……79

目で見える製薬産業

- アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認状況
医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治……88
- 担税にみる製薬産業の事業収益構造
医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎……95

政策研だより

- 主な活動状況（2023年3月～2023年6月）……101
- 政策研メンバー紹介 ……102

ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その1 ―希少疾患―

医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎
医薬産業政策研究所 主任研究員 東 宏
医薬産業政策研究所 元主任研究員 吉田 昌生

1. はじめに

2010年代後半に日本未承認薬が増加し、新たなドラッグ・ラグが起こりつつある^{1~5)}。その多くの品目は海外の新興バイオ医薬品企業による開発品目であり、希少疾患領域や臨床重要度が高い品目が多いとの特徴があった^{1~5)}。

これら未承認薬においては、がん、中枢神経系用剤、感染症などが多いことが明らかになっていたが^{1~5)}、これらの成人適応に加えて、小児に適応を有する品目も含まれていることが想定され、必要とされる最新医療へのアクセスの課題を的確に把握する必要がある。

ドラッグ・ラグは、いわゆる、海外での既承認薬が日本国内での薬事承認を得るまでに時間を要するラグ（遅延）が問題となっているが、医薬産業政策研究所の調査では、日本未承認薬の増加には、国内開発情報が確認されない品目が多くあることを報告している。この開発情報のない、日本未承認薬は本邦で使用される機会がなくドラッグ・ロスとなる可能性が高く、重大な問題である。

本稿では、日本未承認薬の現状をさらに詳しく把握するため、希少疾患領域の小児適応のある未

承認薬に焦点を当て、その実態を調査した。米国オーファンドラッグ指定のある承認品目を調査対象とし、日本未承認薬かつ開発情報のない品目（2022年8月時点）をドラッグ・ロス品目として本稿では定義して、小児適応を有する品目の特徴を分析する。

また次稿⁶⁾では、米国での抗がん剤の小児適応を有する品目（2000年から2022年）のうち、日本未承認薬かつ開発情報のない品目（2023年3月時点）をドラッグ・ロス品目としてその特徴を分析するとともに、2020年までに日本で小児適応を取得した品目のドラッグ・ラグを分析し、これらの要因について検討する。

2. 調査方法

2010年から2021年に米国食品医薬品局（FDA）の医薬品評価研究センター（Center for Drug Evaluation and Research、CDER）により承認された新規有効成分（New Molecular Entity、NME）のうち、FDAからOrphan Drug指定を受けている品目を調査対象とした。FDA小児適応については、上記NMEのうち、2022年末までに小児適応

-
- 1) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：国内未承認薬の状況とその特徴」政策研ニュース No.63（2021年7月）
 - 2) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：未承認薬は日本のアンメット・メディカル・ニーズに応えうるか？」政策研ニュース No.66（2022年7月）
 - 3) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：なぜ、未承認薬が増えているのか？」政策研ニュース No.66（2022年7月）
 - 4) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：日本と欧州の未承認薬状況の比較」政策研ニュース No.67（2022年11月）
 - 5) 医薬産業政策研究所「新薬の国際普及の計量分析：米国承認新薬の日欧承認に注目して」政策研ニュース No.67（2022年11月）
 - 6) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その2 ―抗がん剤―」政策研ニュース No.69（2023年7月）

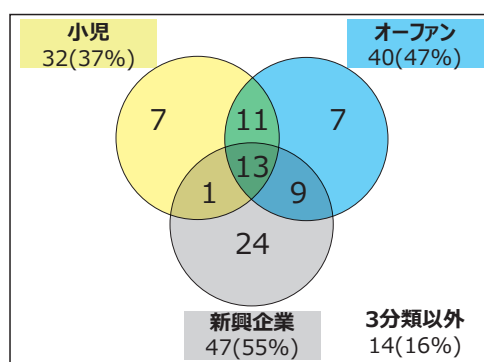
を取得している品目を集計した。小児適応の有無は、小児適応を網羅的に集計しているデータベースは見当たらないため、米国FDAにて掲載されている、個々製品の Prescribing Information の

Indications and Usage および Pediatric Use の項を確認し、判定した。国内開発状況は2022年8月末調査時点で「明日の新薬」（テクノミック制作）の記載情報に基づき集計した。FDAにて取得して

コラム：日本未承認薬の推移とドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロス

医薬産業政策研究所では、欧米で承認されている医薬品について日本での承認有無を確認し、日本未承認薬数の推移を追跡している。この未承認薬数は、ある時点での承認有無を判定したものであり、経時的に変化する数値である。たとえば、2016－2020年に欧米で承認された医薬品のうち、176品目は2020年末時点において日本で未承認である^{1～5)}。2022年末時点での日本承認状況を確認すると143品目に減少しており、2021－2022年に33品目は欧米に遅れて承認されていた。また同176品のうち、2023年3月末時点で86品目の未承認薬は、国内開発情報がない品目であり、これらはドラッグ・ロスとなるリスクが高いものと考えられる。なお、この86品目では、米国にて小児適応があった品目は32品目（37%）であり、うち24品目（28%）はオーファンドラッグ指定を受けていた。小児あるいはオーファン指定のいずれかの品目は計48品目（56%）と半数を超えていた。ある年度時点での日本未承認の品目には、欧米に遅れて承認されるもの（いわゆるドラッグ・ラグ）、長期的に承認されないであろうもの（いわゆるドラッグ・ロス）が含まれる。今後の長期的な承認有無の可能性は推定困難であるため、調査時点において、国内開発情報がない未承認薬を本稿ではドラッグ・ロスと分類している。

コラム図
欧米承認薬のドラッグ・ロス（2023年3月時点）品目の特徴



ドラッグ・ロス（2023年3月時点） 86品目

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

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

注2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

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

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

注5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

また、2016－2020年に欧米で承認された品目のうち、2020年末時点に日本で承認された品目は、未承認薬としていないが^{1～5)}、この中にはドラッグ・ラグとなる品目も含まれる可能性がある。たとえば、2016年に欧米で承認され、日本は2020年に承認された品目は4年のドラッグ・ラグとなる。医薬産業政策研究所にて調査・分析している日本未承認薬の推移は、主にドラッグ・ロスの課題を可視化するための分析であることから、ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの分析には、このデータ特性に留意する必要がある。

いた小児適応疾患については、厚生労働省「指定難病：指定難病病名一覧表（令和3年11月1日版）」、小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の対象疾病リスト（令和4年4月1日版）」と照合し、疾患名を同定した。本照合においては、日本製薬工業協会 産業政策委員会 難病・希少疾患タスクフォースのご協力を頂いた。

開発企業のカテゴリは、Evaluate Pharma から取得した企業設立年、売上高の情報に基づいて行った。FDA 承認申請企業を開発担い手とし、FDA 承認取得年が設立年から30年以内、且つ、承認取得前年の売上が5億米ドル未満の企業を新興企業とし、それ以外の企業を製薬企業とした。

3. 結果

3-1. 小児適応を持つ米国オーファンドラッグ品目のドラッグ・ロス

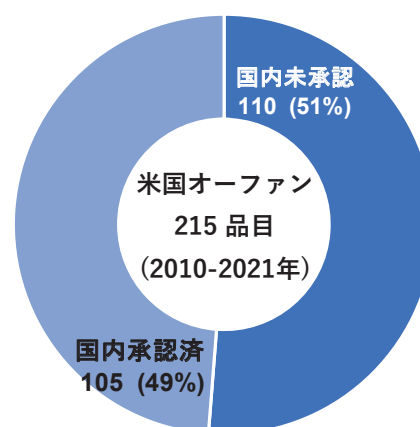
2010年から2021年の間、米国にてオーファンドラッグ指定を受けて承認された新規有効成分は215品目であった。このうち、2022年8月末時点で国内未承認の品目は110品目（51％）に上った（図1）。

なお、国内承認済の105品目については、米国・日本における小児適応の確認には至っておらず、米国で小児適応があっても日本で小児適応がない品目が含まれている可能性は残っている。そのような品目は日本では適用外薬として小児への使用はできない問題となる。本稿ではこれらの包括的な調査結果に至っていないものの、次稿では小児の抗がん剤にて現状分析しており、併せてご参照頂きたい。

国内未承認の110品目の国内開発状況をみると、開発中は40品目（36％）であったものの、61品目（56％）では国内開発情報は得られなかった（図2）。すなわち、米国にてオーファンドラッグ指定され、承認されたNME215品目のうち、61品目（28％）は、本邦での開発は公開情報によると確認されず、本稿でいうドラッグ・ロス（2022年8月時点）となっていた。

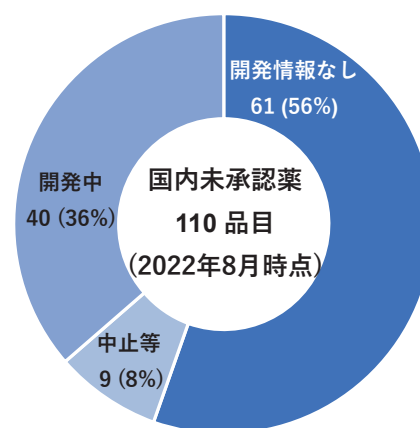
なお、国内開発中に分類された40品目においては、米国にて小児適応を12品目で取得していた（データ省略）。国内開発については、成人・小児

図1 米国オーファンドラッグ品目の国内未承認薬



2022年8月末時点で国内の承認有無・開発状況を集計
出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図2 米国オーファンドラッグ品目の国内未承認薬の国内開発状況

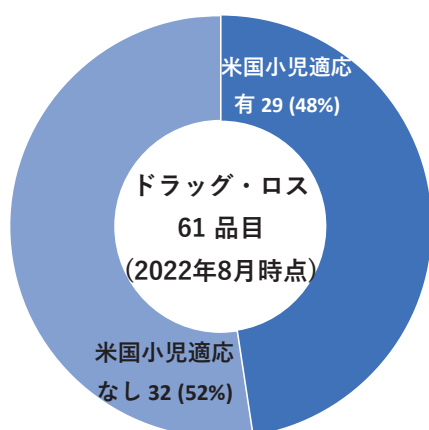


2022年8月末時点で国内の承認有無・開発状況を集計
中止等には中断、続報なしを含む
出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成

の開発の区別は公開されていないため、小児開発の状況は不明であるが、2022年8月末時点では本邦では未承認の状態であることから、初回適応においてドラッグ・ラグは生じている。

また図2の中止等には、開発中止・中断や続報なしの品目も含まれている。これら品目は臨床試験結果や海外での取り下げなどの科学的な判断に基づくものと共に、事業判断に基づくものも含まれている可能性は否定しきれず、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスが含まれる可能性があることを付記しておく。

図3 ドラッグ・ロス品目の米国小児適応状況



出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬をもとに医薬産業政策研究所にて作成

また、国内開発情報が確認されなかった61品目について、米国にて小児適応が取得されているか、調査したところ、61品目中29品目（48%）とほぼ半数で小児適応を有していることが確認された（図3）。なお、小児適応なしの32品目は、感染症・熱帯病12品目、がん8品目、診断薬5品目が含まれていた（データ省略）。

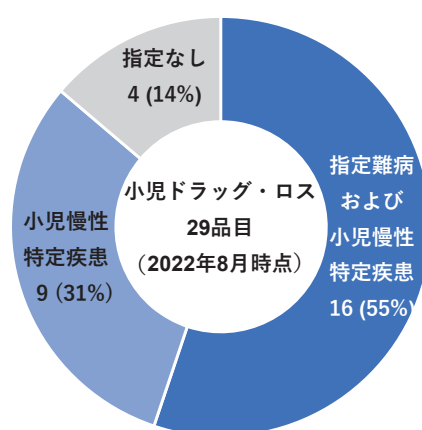
すなわち、米国でオーファンドラッグ指定を受けて承認された新規有効成分のうち、29品目は米国で小児適応を有していたが、国内開発情報が確認されず、本稿でいうドラッグ・ロス（2022年8月末時点）であることが判明した。

3-2. 小児ドラッグ・ロス品目の特徴

さらに、米国にてオーファンドラッグ指定を受けて承認された新規有効成分のうち、国内で開発情報が確認されず、かつ米国で小児適応を得ている29品目について、適応疾患の特徴をみるため、本邦での指定難病⁷⁾あるいは小児慢性特定疾病⁸⁾の指定対象に該当する疾患であるか、米国での適応疾患の記載を確認した（図4）。

29品目のうち、指定難病および小児慢性特定疾患の対象となるものは16品目（55%）、小児慢性特

図4 指定難病・小児慢性特定疾患該当の推定



出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬、厚生労働省「指定難病：指定難病病名一覧表（令和3年11月1日版）」、小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の対象疾病リスト（令和4年4月1日版）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

定疾患のみの対象となっているものは9品目（31%）であった。小児慢性特定疾患の対象は合計25品目（86%）に上り、医療ニーズの高い疾患に対する品目において、本稿でいうドラッグ・ロス（2022年8月末時点）があることが示された。

ドラッグ・ロス（2022年8月末時点）となっている要因に迫るため、これらの29品目について、米国でのFDA申請企業を開発担い手として調査した。

29品目のうち15品目（52%）は新興企業、14品目（48%）は製薬企業であり（図5）、ほぼ半々であった。小児慢性特定疾患対象の25品目に絞って企業分類をみても、新興企業13品目、製薬企業12品目で同様にほぼ半々の割合であった（データ省略）。

欧米承認品目で国内未承認薬増加の要因として開発担い手に新興企業が多いことを既に報告しているが^{1~5)}、その結果と同様に、小児適応のドラッグ・ロス品目（2022年8月時点）においても新興企業の品目は多かった。その一方、半数は製薬企業品目であったことから、本邦の小児ドラッグ・

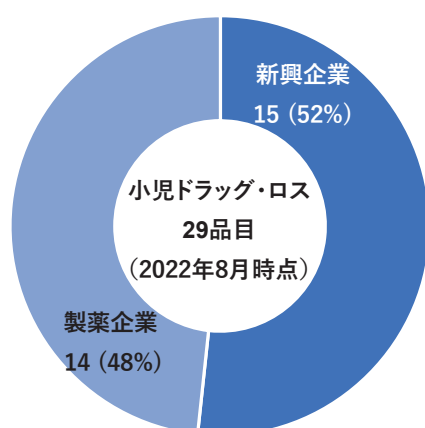
7) 厚生労働省 希少疾病用医薬品等の指定制度

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>（2023.06.01アクセス）

8) 特定用途医薬品指定制度

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html（2023.06.01アクセス）

図5 開発担い手企業の分類



注：企業分類は、FDA 承認申請企業の設立年および売上を調査し、承認取得年が設立年から30年以内、且つ、承認取得前年の売上が5億米ドル未満の企業を新興企業とし、それ以外の企業を製薬企業とした。

出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬、厚生労働省「指定難病：指定難病病名一覧表（令和3年11月1日版）」、小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の対象疾病リスト（令和4年4月1日版）」、Evaluate Pharmaをもとに医薬産業政策研究所にて作成

ロスに特有な課題があることが推察された。

29品目についてその適応となる疾患を表1にまとめた。小児特定慢性疾患の指定がある品目の主な疾患分類は、遺伝性疾患であり、14疾患、21品目であった。次いで希少がんで3品目であった。

小児特定慢性疾患の指定がないものでは、感染症・熱帯病の適応で2疾患、3品目、とその他の疾患適応で1品目であった。

表1 小児 ドラッグ・ロス品目の疾患領域

小児特定慢性疾患	分類	適応となる疾患	品目数
指定あり	遺伝性疾患	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症、アラジール症候群、亜硫酸酸化酵素欠損症、ハッチンソン・ギルフォード症候群、遺伝性脂肪酸代謝異常症、原発性高シュウ酸尿症、オロト酸尿症、ゴーシェ病、ポンペ病、鎌状赤血球症、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、嚢胞性繊維症、サラセミア、スミス・マギニス症候群	21
	希少がん	白血病、リンパ腫、神経芽腫	3
	その他	脂肪酸代謝異常症	1
指定なし	感染症・熱帯病	シャーガス病、オンコセルカ症	3
	その他	中心静脈栄養関連新生児胆汁うっ滞	1

出所：FDA、PMDA の公開情報、明日の新薬、厚生労働省「指定難病：指定難病病名一覧表（令和3年11月1日版）」、小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の対象疾病リスト（令和4年4月1日版）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

4. まとめと考察

2010年から2021年に米国でオーファンドラッグ指定を受けて承認された品目215品のうち、小児適応を有するが、本邦で開発情報が確認されなかった、本稿でいうドラッグ・ロス（2022年8月時点）は、29品目に上った。本邦での指定難病あるいは小児慢性特定疾病に該当するか、確認したところ、29品目中25品目では対象となっており、本邦で必要とされている疾患領域で小児適応が期待される薬剤のドラッグ・ロス（2022年8月時点）が起きていることが示された。

29品目の疾病では、遺伝性疾患が大半を占めていた。遺伝性疾患では、先天性疾患の原因遺伝子の解明、治療モダリティーの拡大に伴い、米国における新薬の開発が進展したことにより、薬剤が増えてきたことが想定される⁹⁾。米国においてこれら薬剤の開発が急速に進展した要因についてはさらなる調査研究が必要であろう。

希少疾患や小児適応においては、一般的に市場の規模は極めて小さいものの、追加的な研究開発投資が必要のため、経済合理性は成り立たない事業領域と考えられる。グローバルにおいてこの効率性の追求がなされているものと思われるが、遺伝性疾患においては、遺伝子変異などの発生頻度に民族差があることも想定され、本邦における対象患者が諸外国に比べて少ないことも想像に難しく、本邦においては、より収益性の確保が難し

9) Regulators adopt more orphan drugs, Nature 508, 16-17, 2014

い可能性が高い。また、希少疾患の小児ドラッグ・ロス品目（2022年8月時点）の半数は新興企業品目で、近年の未承認薬増加における動向¹⁻⁵⁾と同様であったことから、本邦の市場性や研究開発環境の課題が想定される。さらに小児ドラッグ・ロス品目（2022年8月時点）では製薬企業品目も半数あり、小児適応に特有の課題も想定された。本邦の政策においても、難病・希少疾患や小児適応における医薬品開発の重要性を鑑み、「希少疾病用医薬品指定制度」や「特定用途医薬品指定制度」により、希少疾病や小児用医薬品開発を後押ししている^{7, 8)}。しかしながら、欧米に比べてオーファン指定の増加が少ないなど¹⁰⁾、近年の急速な科学の進展や医薬品開発の環境変化に呼応した支援策となっていない可能性もあり、現状の課題分析を踏まえた、制度設計が期待されるところである。希少疾患であっても、本邦での最新医薬へのアクセスを確保するためには、日本における研究開発投資が必要と考えられる。このような希少疾患領域においては、投資効率化のためにもグローバル

で同時開発がより一層重要となるとともに、収益性を確保できない希少性の際には、個別企業の事業ではなく、国の医療政策としての小児用の医薬品開発も視野に入れた政策が必要であろう。

この課題の要因については、抗がん剤の小児適用品目を取り上げ、次報の東らによる「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その2 ―抗がん剤―」⁶⁾においても考察しており、併せてご参照頂きたい。

本邦のドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスは、最新薬剤を待ち望む患者さんをはじめ、ご家族、医療関係者、すべての関係者にとっても解決が期待される課題である。その課題の要因は複雑かつ多岐に渡ることが想定されるため、解決には個々の制度の改善といった、これまでの延長性上ではなく、製薬産業・医療機関にとっては事業モデルからの変革、薬事規制当局・政策当局にとっても新たな法整備や支援体制・支援策など変革の大きな一歩を踏み出すことが必要であろう。

10) Matched analysis on orphan drug designations and approvals: cross regional analysis in the United States, the European Union, and Japan, Drug Discovery Today, 21, 544-549, 2016

ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その2 ―抗がん剤―

医薬産業政策研究所 主任研究員 東 宏
医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎

1. はじめに

これまで医薬産業政策研究所ではドラッグ・ラグの現状分析を重ねてきた^{1、2、3、4、5}。ドラッグ・ラグとは、海外での既承認薬が日本国内での薬事承認を得るまでに年月を要するという問題のことであり、2つの側面を有する。日本で承認されているが他国よりも時間を要した「ラグ（遅延）」という側面と、他国で承認されているが日本では承認されていない「日本未承認」という側面である。この日本未承認は長期間放置されると、「ドラッグ・ロス」となり、重大な問題となり得る。

日本未承認薬に関連する小児疾患の多くは希少疾患であり、また未承認の疾病領域にがんが多いことが報告されている³。厚生労働省でも小児がんの医薬品開発推進に力を入れ、調査を進めている⁶。本稿では、小児がん用医薬品を抗がん剤のうち小児適応を取得しているものと定義し、日米の承認および適応状況を調査のうえ、ドラッグ・ラグの状況について報告する。またドラッグ・ラグの要因解明に繋げるべく、米国における開発担い手やピボタル試験（薬事承認申請に必要なデータを取得する検証的試験）を分析し報告する。

2. 調査方法

本稿では、米国での医薬品の承認及び小児適応取得状況として、U. S. Food and Drug Administration (FDA) がHP上で公表している Pediatric Oncology Drug Approvals⁷ に記載の医薬品のうち、2000年から2022年に小児適応を取得した40品目の情報を調査対象とした。

日本における当該品目の承認状況や小児適応取得状況は、主に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）で公表している新医薬品の承認品目一覧や審査報告書、インタビューフォーム等から収集・分析した。

米国が含まれる臨床試験情報については、米国国立衛生研究所（NIH）等によって運営されている臨床試験登録システム（ClinicalTrials.gov）を用い、日本単独臨床情報についてはPMDA公表の審査報告書で確認した。

開発担い手の製薬大手はEvaluate Pharmaを参照し、小児適応取得時にグループ連結売上高が50億米ドル以上の企業とした。

日本未承認とは成人を含め新規有効成分の承認を得ていない品目を示し、日本適応外とは承認を

-
- 1) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：国内未承認薬の状況とその特徴」政策研ニュース No.63（2021年7月）
 - 2) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：未承認薬は日本のアンメット・メディカル・ニーズに応えうるか？」政策研ニュース No.66（2022年7月）
 - 3) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：なぜ、未承認薬が増えているのか？」政策研ニュース No.66（2022年7月）
 - 4) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：日本と欧州の未承認薬状況の比較」政策研ニュース No.67（2022年11月）
 - 5) 医薬産業政策研究所「新薬の国際普及の計量分析：米国承認新薬の日欧承認に注目して」政策研ニュース No.67（2022年11月）
 - 6) 厚生労働科学研究 令和4年度採択研究「小児がん及び小児稀少難治性疾患に係る医薬品開発の推進制度に資する調査研究」<https://mhlw-grants.niph.go.jp/project/161722> Accessed May 30th 2023.
 - 7) FDA webpage, Pediatric Oncology Drug Approvals, <https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/pediatric-oncology-drug-approvals>. Accessed May 30th 2023.

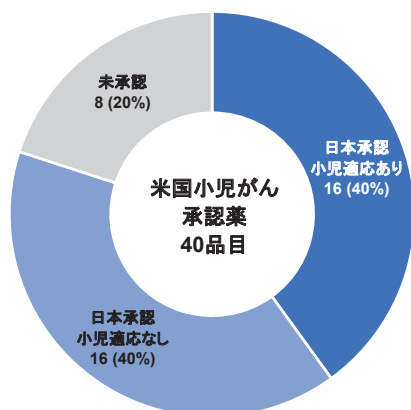
得てはいるものの小児向けの適応を承認取得していない品目を示す。日本における承認および小児適応の有無は2023年3月末時点での情報を用いた。

3. 米国の小児がん用医薬品状況

3-1. 米國小児がん用医薬品の日本小児適応取得状況

米国で小児適応を有する抗がん剤は2000年から2022年に40品目承認されていた。この40品目について日本での承認および小児適応状況を調査した(図1)。日本で承認されておりかつ小児の適応を取得している品目が16品目(40%)、日本で承認はされているものの小児の適応を取得していない品目が16品目(40%)、日本では未承認(2023年3月末時点)の品目が8品目(20%)であった。即ち、米国で小児がん用に承認されている40品目のうち、日本ではその60%にあたる24品目が小児適応を取得していないことが確認された。

図1 米國小児がん承認薬の国内承認状況



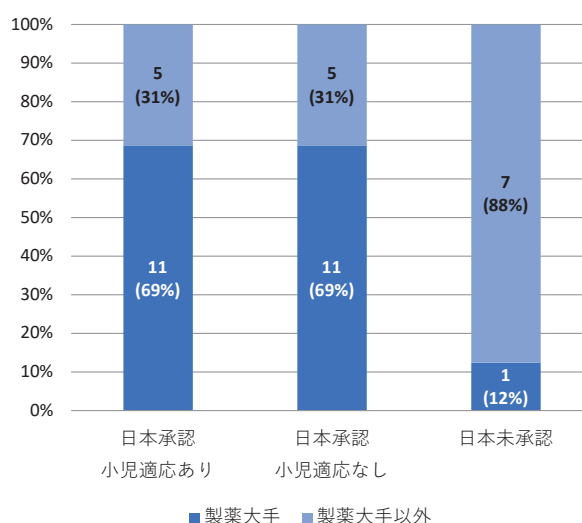
出所：PMDA、FDA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3-2. 米国開発担い手分類別比較

米国で小児適応を持つ40品目について米国での開発担い手を確認した(図2)。日本で小児適応のある16品目のうち、米国での開発担い手が製薬大手であった品目が11品目(69%)、製薬大手以外が5品目(31%)であった。

また、日本で承認されているが小児適応がない16品目では、製薬大手が11品目(69%)、製薬大手

図2 開発担い手分類ごとの品目数と割合



注：製薬大手とは小児適応取得時にグループ連結売上高が50億米ドル以上の企業を指す。

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

以外が5品目(31%)であった。

一方、日本未承認薬8品目では、製薬大手が1品目(12%)、製薬大手以外が7品目(88%)であった。

日本において承認されているが小児適応のない品目では製薬大手企業の開発品が多く、日本未承認の品目の大半は製薬大手以外の開発品であった。

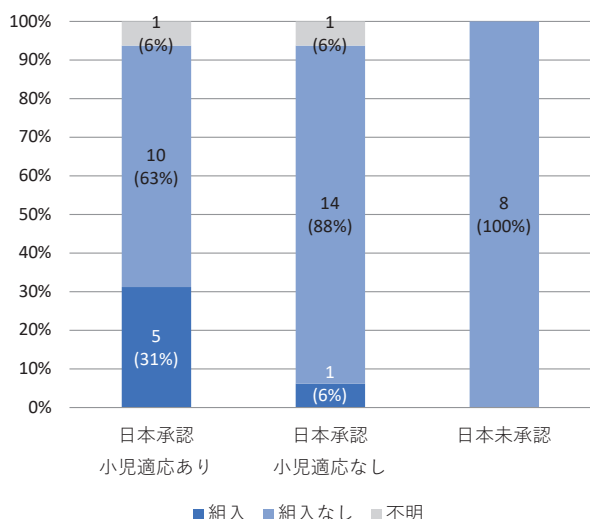
3-3. ピボタル試験への日本組入れ状況

日本で抗がん剤が未承認となる要因として国際共同試験への日本地域組入れがないことが影響していることを政策研ニュース No.66において報告している³⁾。小児適応取得においても関連性を探るべく、Pediatric Oncology Drug Approvalsに記載されている、承認の根拠となった臨床試験(ピボタル試験)での日本の組入れ状況を調べた(図3)。なお、日本からの組み入れ患者年齢について成人あるいは小児の別は調査に及んでいない。

日本で小児適応のある16品目のうち、日本が試験に組み入れられていた品目が5品目(31%)、組み入れられていなかった品目が10品目(63%)、不明が1品目(6%)であった。一方、日本未承認と

日本承認小児適応なしのほとんどが日本組み入れのない品目であり、日本未承認は8品目すべて、日本承認小児適応なしの品目は14品目（88%）が日本組み入れなしであった。

図3 ピボタル試験の日本組み入れ状況



注1：FDA サイトに記載の各臨床試験は、成人の有効性データを小児に外挿した成人の臨床試験を示している場合がある。

注2：複数の試験が記載されている場合は、参加国が多いもの、後期 phase のものを優先的に選択した。

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

日本で小児適応を取得した品目においては、31%で国際共同治験に日本が組み入れられていることが確認されたが、興味深いことに日本が組み入れられていなくとも承認が取得されている品目が存在した。小児適応の承認取得においては、国際共同治験への参画以外のデータパッケージの活用もありうることが示唆された。

すなわち、日本未承認や小児適応なしの品目では、日本組み入れがほとんどないことが明らかとなり、少なくとも国際共同治験への日本地域の参画は承認取得のアプローチとして有用であることが示唆された。

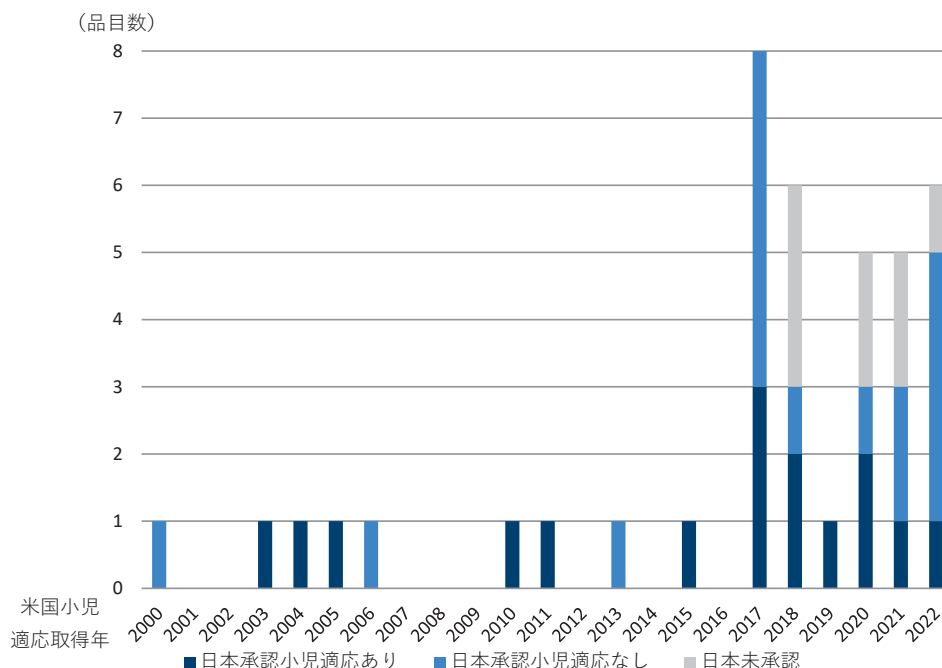
4. 日本未承認・適応外薬の増加

4-1. 近年における米國小児適応取得品目の急増と日米差拡大

2000年以降の米国の抗がん剤のうち小児適応取得の品目数推移を分析した(図4)。小児適応取得年とその品目数を調査したところ、2000年から2016年の小児適応取得品目は9品目であるのに対し、2017年以降に小児適応取得したものが31品目（78%）あり、急増していた。

2017年以降の品目の日本承認状況をみると、日

図4 米國小児適応取得状況

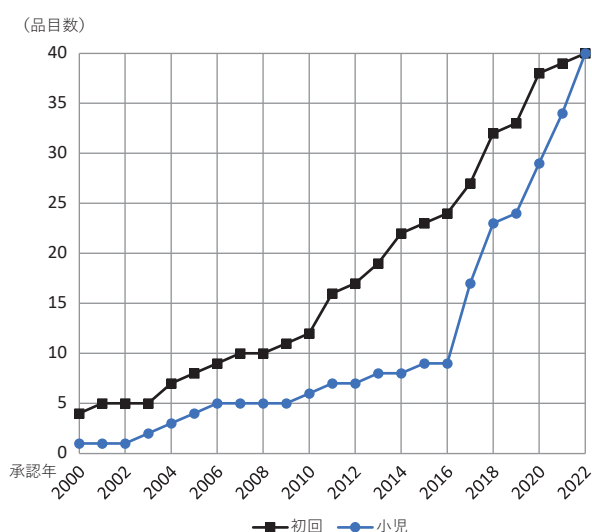


出所：PMDA、FDA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

本で小児適応を取得した品目もある一方、2023年3月末時点にて日本で小児適応なしあるいは日本未承認薬が21品目（全体の53%）あり、多くの品目は日本で使用できないことが示された。

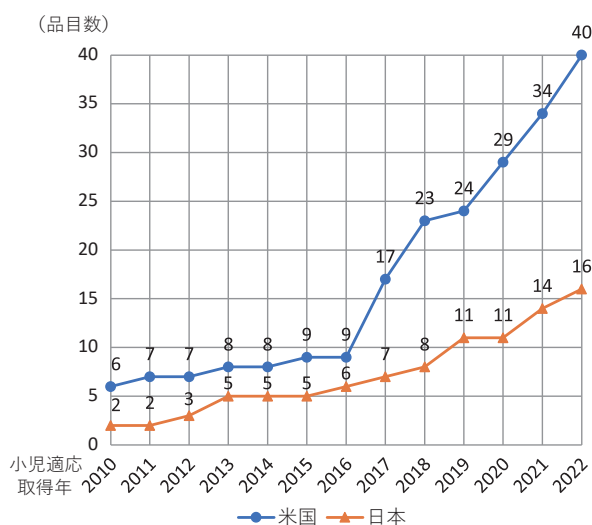
また、2017年以降の品目の変化について特徴を調査した。米国内での初回承認と小児適応取得数の推移を辿ったところ、初回承認の進捗は従来とさほど変化なく着実に増加している中で小児適応取得数が急増していることがわかった（図5）。

図5 米国内初回承認・小児適応取得数（累積）



出所：FDA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図6 小児適応取得数（累積、日米比較）



出所：PMDA、FDA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

さらに、日米の小児がん適応取得数の累積品目数を図6に示す。2017年以降の米国での承認品目が大きく増加したことに対し、日本の小児適応取得品目数では大きな増加は見られなかった。その結果として日米間の累積品目数の差が、2016年では3品目のみであったところ、2022年では24品目と拡大し、近年は日本で小児がんの未承認・適応外薬が増加していることが確認された。

すなわち、2017年以降の小児適応取得における日米差拡大は、抗がん剤全体の承認に状況変化があったものではなく、米国における小児適応取得の状況変化に要因があったことが示唆された。

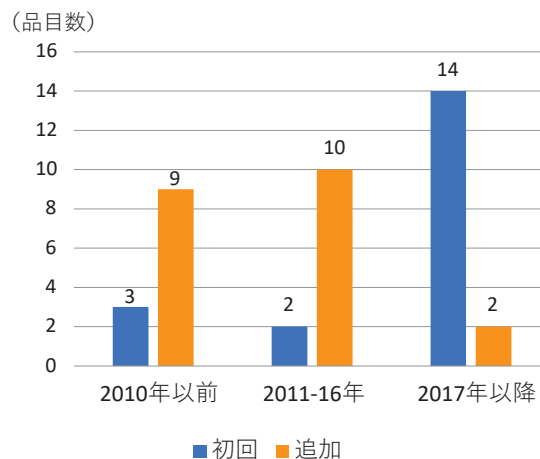
4-2. 初回適応取得か追加適応取得か

米国での承認品目につき、小児適応の取得タイミングを調査した(図7)。小児適応を初回承認時に取っているか、追加適応として初回承認後に取っているかに分類し、時期別（2010年以前、2011～2016年、2017以降）で集計した。

2016年以前には成人向けの抗がん剤として開発し、初回承認を得た後に小児適応を追加取得していた医薬品が多かった（9/12品目、10/12品目）。

一方、2017年以降はその比率が逆転し、初回承認時に小児適応を取得しているものが多く、16品目中14品目が初回時の取得であった。14品目のうち、成人患者にあまり使用されない、主に小児向けの抗がん剤は1品目のみであった。

図7 米国の小児適応取得時期



出所：PMDA、FDA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

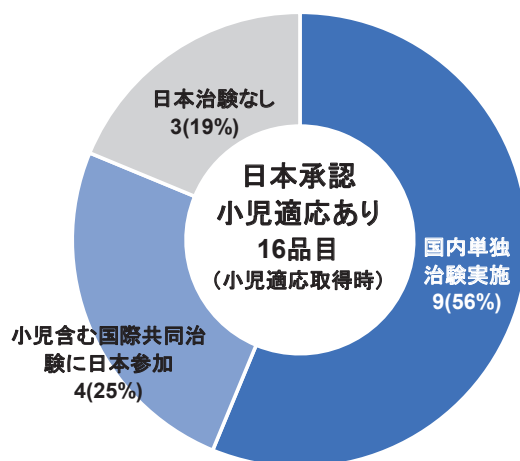
5. 日本で小児適応のある品目の特徴

5-1. 国内小児適応取得時の臨床試験

小児適応の取得における国際共同治験の位置づけを把握するため、日本承認小児適応ありの16品目について日本の小児適応取得時の臨床試験状況をPMDAの審査報告書から調査した(図8)。特に、日本人の小児が臨床試験に登録されているかどうかに着目して調査した結果、小児を含めた形で国内単独治験を国際共同治験とは別に実施していたものが9品目、小児患者を含んだ国際共同治験に日本が参加していたものが4品目確認された。さらに残り3品目のうち、1品目は主に海外データを用いた公知申請によるものであり、残り2品目は、申請時に日本人の小児データがなくとも、外国人小児データからの外挿等で承認取得していた⁸⁾。

すなわち、多くの場合で国際共同治験とは別に、日本人の小児データを取得するために、小児を対

図8 国内小児適応申請時の日本人小児データに関する治験状況



出所：PMDAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

象とした国内単独の臨床試験を実施していることが明らかとなった。

5-2. 米国初回承認から日本小児適応取得までの期間

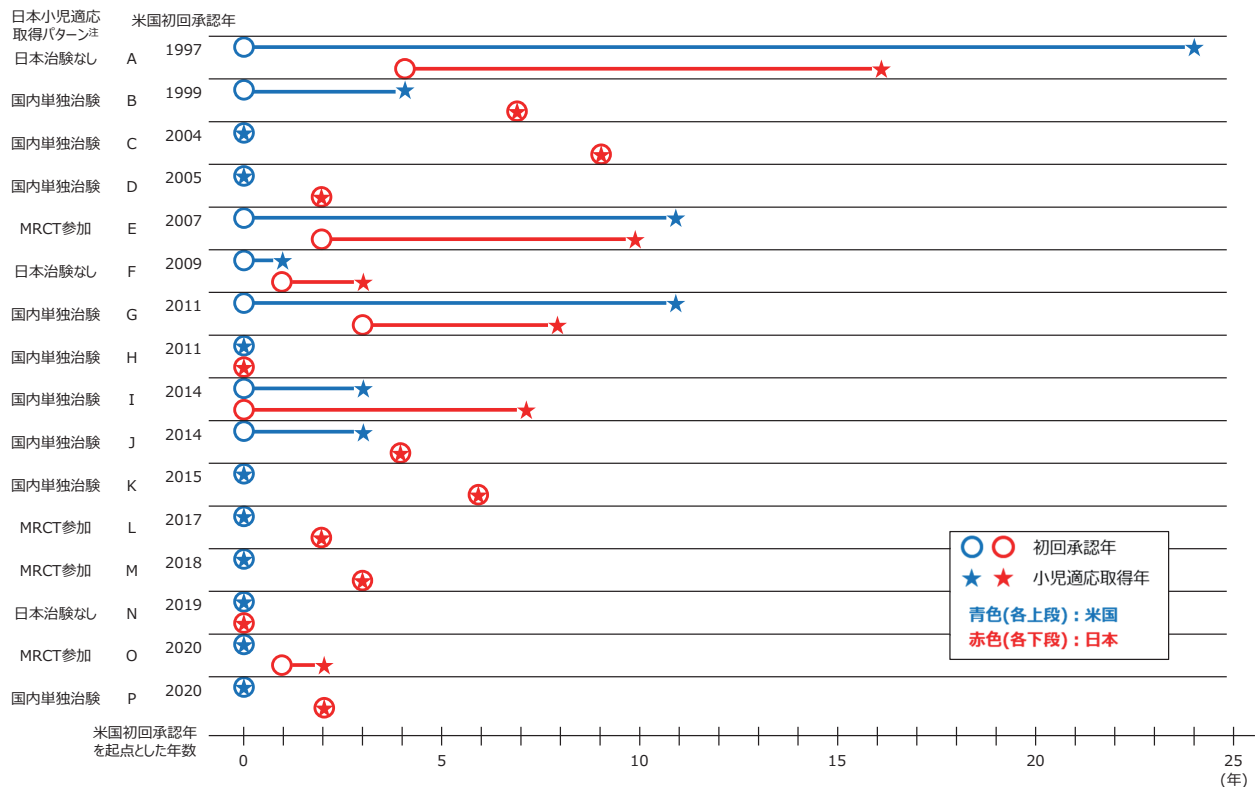
日本承認で小児適応を取得した品目について、その承認時期の遅延有無を確認した(図9)。日米の両国にて小児適応が取得された品目は16品目あったが、それら全ての米国初回承認年を調査すると1997年から2020年であった。

各品目の承認適応取得パターンは複数あり、米国で初回から小児適応までの期間が長い品目(パターン1：A、E、G)、日本で初回から小児適応までの期間が長い品目(パターン2：A、E、I)などがあった。また、米国初回承認と日本初回承認の間に期間を要しているもの(パターン3：B、C)は、日本で初回と小児が同時であっても、米国からは遅れていた。

年代別に見てみると、近年では米国にて初回承認時に小児適応を取得する品目も多く、これらは比較的日本でも初回に小児適応を取っており、2017年以降では米国からの遅れも2年程度の品目であった(4品目/5品目)。すなわち、日本で小児適応が米国に遅延なく取得されるためには、米国で初回承認時に小児適応を取ることが、極めて重要であることが示唆された。なお、本分析は既に日本で小児適応を取得した品目での結果となり、図に記載のない未承認・適応外の品目において今後小児適応を取得する可能性もある。また、各品目でデータ評価期間が揃っておらず、古い品目と新しい品目とを比較するには適していない。

8) 事例：第3回小児がんのための薬剤開発を考える「小児がんの薬剤開発に関する最近の状況・ロズリートレカプセル」等がある。<https://www.pmda.go.jp/files/000233567.pdf>, Accessed May 30th 2023.

図9 米国初回承認年を基準とした各品目の日米小児適応時期



図中には日本で小児適応を取得したもののみを示している。

注：図8の分類を示す。国内単独治験とは「国内単独治験実施」、MRCT参加とは「小児含む国際共同治験に日本参加」を表す。

出所：PMDA、FDAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

6. 考察とまとめ

これまでを要約すると、米国で2000年以降適応を取得した小児がん用医薬品の60%は日本で未承認・適応外薬（2023年3月末時点）となっていた。詳細にはその3分の1が未承認であり3分の2が適応外薬であった。また、日本未承認薬となっている品目の担い手は、製薬大手以外の企業が多かったが、日本適応外薬となっている品目の担い手は、製薬企業も多く、大きい規模の企業でも日本での小児適応取得がされていなかった。さらには、2017年以降、米国の小児適応が初回承認時に取得され、品目数が急増した。そのため、日米の小児

適応品目数の差が3品目から24品目に広がり抗がん剤の小児適応のドラッグ・ラグが拡大した。

まず、米国での2017年の変化について薬事規制の観点から考察を加えたい。抗がん剤の小児適応は、対象患者数も少ないこと、適応取得においては成人適応に追加して、臨床試験や製剤開発などの追加投資が必要となることが想定される。小児適応の開発が後回しとなる傾向は否めず、行政においても開発促進策が講じられてきた^{9、10)}。米国においては2002年にインセンティブ（6か月の独占販売権、優先審査）を与える Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA)¹¹⁾、2003年に小

9) 「欧米における小児医薬品開発の取組み」中里有希 ファルマシア、2022、58 (3)、207-211.

10) “Changing incentives to ACCELERATE drug development for paediatric cancer” T. de Rojas, P. Kearns, P. Blanc, J. Skolnik, E. Fox, L. Knox, R. Rousseau, F. Doz, N. Bird, A. J. Pearson, G. Vassal, *Cancer Medicine.*, 2023;12:8825-8837.

11) CONGRESS.GOV 107th Congress (2001-2002) S.1789 - Best Pharmaceuticals for Children Act <https://www.congress.gov/107/plaws/publ109/PLAW-107publ109.pdf>, Accessed May 30th 2023.

児開発を義務付ける Pediatric Research Equity Act (PREA)¹²⁾ が制定された。また2012年には、Creating Hope Act¹³⁾ により、譲渡可能な優先審査バウチャー (Priority Review Vouchers: PRV) がインセンティブとして付与されることが可能となっている。2017年には、Research to Accelerate Cures and Equity (RACE) for Children Actが制定された¹⁴⁾。RACE for Children Actでは新たに、FDA が制定した小児がんでも関連性の高いとする分子標的リストに基づき、成人向けの当該分子標的抗がん剤を開発している企業に対し、小児試験計画を作成することが義務付けられた。2017年からの米国における小児適応品目数の増加の背景には、法制定から適応取得までの開発期間を考慮すると、ここに記した各種インセンティブと義務付けの両側面の開発促進策が影響した可能性がある。加えて、米国の小児適応の加速要因について、21世紀に入りがんゲノムと疾病との関係性解明といった科学の進歩、個別化医療の進展などの表れである可能性も考えられる。RACE for Children Actにおける分子標的リスト公表もその一端と捉えられる。

一方、日本においても開発促進策が講じられ、承認後の再審査期間の延長(10年を超えない範囲)とその明確化を企図した見直し(令和2年)、薬価の小児加算(5-20%の引き上げ)などが挙げられる¹⁵⁾。また、特定用途医薬品指定制度¹⁶⁾も制定され、優先相談・優先審査などの小児の治療薬開発を促す施策が施されているが、米国に比べ承認・適応外薬の品目が増え小児適応取得の品目数差が拡大する現状の中では、より効果的な施策が必要となることが想像に難くない。

小児適応の抗がん剤においては、そもそもその

品目が日本では未承認となっている品目がある(8品目)ことが明らかとなった。3-2章で示した通り、日本未承認薬の多くは製薬大手以外が開発を担っていた。これは小児がんの未承認薬に限った事象というより、近年のドラッグ・ラグやドラッグ・ロス全般に見られる要因である³⁾。すなわち、新興企業(本稿では製薬大手以外に該当)にとって、日本の治験実施環境のハードルが高く、また、日本地域への投資にあたっては、日本の薬剤市場の魅力度が低い可能性がある。実際の企業行動や思考については、公開情報からの推察には限界があり、個社毎の実態聞き取り調査等より深い精査が必要とされる。

また、日本では承認されているものの、小児の適応が取得されていないもの(16品目)も多くあったが、これらの開発担い手の多くは製薬企業大手であることが示された。製薬企業大手では、日本国内に開発機能・販売機能やノウハウを有しているものの、開発着手されていない現状では、小児開発の追加投資を回収する見込みが立たないことが要因として想定される。また、抗がん剤の領域では、遺伝子変異を標的とした分子標的薬が主流になりつつある。ある種希少フラグメント化しており、投資回収の困難度が高まっていると同時に、データ収集の困難さが増している。小児開発への投資負担を軽減するような行政による財政上の支援と、海外含む既存データの外挿で承認を与え、承認後の国内実臨床データをもって再審査する事例を増やすなどの薬事制度支援、両面からの強力な開発支援が大いに期待される。

本稿からは論点が多少ずれるが、小児がんは成人のがんと比較して疾病治療以外にも考慮すべき点がある。例えば長期入院に伴う就学支援の課題

12) CONGRESS.GOV 108th Congress (2003-2004) S.650 - Pediatric Research Equity Act of 2003 <https://www.congress.gov/108/plaws/publ155/PLAW-108publ155.pdf>, Accessed May 30th 2023.

13) CONGRESS.GOV 112th Congress (2011-2012) S.606 - Creating Hope Act of 2011 <https://www.congress.gov/112/bills/s606/BILLS-112s606is.pdf>, Accessed May 30th 2023.

14) CONGRESS.GOV 115th Congress (2017-2018) H.R.1231 - RACE for Children Act <https://www.congress.gov/115/bills/hr1231/BILLS-115hr1231ih.pdf>, Accessed May 30th 2023.

15) 「小児医薬品開発における行政の取組み」堀内大士 ファルマシア、2022、58(3)、201-206.

16) 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, Accessed May 30th 2023.

などがあり、国立がん研究センターでは「小児がん就学の相談対応の手引き」¹⁷⁾を発行している。あるいは、晩期合併症¹⁸⁾、妊孕性温存¹⁹⁾等の課題もある。医療関係者のみならず家族の看護体制など総合的な援助策が必要であり、社会全体として

取り組む課題と考え、製薬に携わる者として日本での治療選択肢を増やし、救える・治せる・より良く生きられる子供が増えることを願うばかりである。

-
- 17) がん情報サービス「小児がん患者就学支援」サイト内より https://ganjoho.jp/med_pro/consultation/education/pdf/shugaku_guide01.pdf, Accessed May 30th 2023.
- 18) がん情報サービス「晩期合併症／長期フォローアップ」サイトより https://ganjoho.jp/public/life_stage/child/follow_up/follow_up.html, Accessed May 30th 2023.
- 19) 厚生労働省「小児・AYA世代のがん患者等の妊孕性温存療法研究促進事業」 https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/kenkou/gan/gan_byoin_00010.html, Accessed May 30th 2023.

デジタルセラピューティクス (DTx) がもたらす価値を考える

医薬産業政策研究所 主任研究員 辻井惇也

1. はじめに

デジタルセラピューティクス (以下、DTx) は、「疾患等を治療、管理、予防するため、証拠に基づいた治療介入を提供するデジタル製品」とされており¹⁾、現在の医療・ヘルスケアのあり方に大きな変革をもたらすことが期待されている。例えば、DTxの特徴の一つである「日常の連続データの取得」は、通院時以外の患者の健康状態の管理を容易にし、医療従事者の積極的な介入がない治療の空白期間を埋めることを可能とする。また、「デジタル技術を用いた治療介入」を通じ、外的要因 (居住地、専門医の不足等) や患者特性 (妊婦、子ども等) により、適時適切な治療へのアクセスが難しかった患者へ新たな治療選択肢を提供することができる。加えて、「教育の提供による疾患理解の促進」は、治療に対する患者の意識を変容させ、より積極的な治療参画をもたらすことが期待できる。

現在、世界各国でDTxの開発が進んでおり、わが国でも、CureApp社の「ニコチン依存症治療アプリ及びCOチェッカー」を皮切りに、これまで3つのDTxが製造販売承認を取得している。この他にも、複数のDTxが次の製造販売承認を目指し、開発に鎬を削る中、DTxを含むプログラム医療機器 (以下、SaMD) の特性を踏まえた新た

な薬事・保険償還制度の議論が並行して進められている。特に、保険償還制度の整備は、DTx開発における事業予見性に大きく関わる重要な課題であり、産官学のステークホルダーにより、目指すべき姿が検討されている。

DTxの診療報酬上の評価については、令和4年度保険医療材料制度改革において考え方が整理されており、「製品特性に応じて技術料または特定保険医療材料として評価されること」、並びに「医師の働き方改革の観点を念頭に置きつつ、製品の特性を踏まえ、施設基準等への反映も含め評価すること」等が示されている²⁾。しかしながら、2023年1月18日開催の中央社会保険医療協議会総会において、令和6年度診療報酬改定に向け、「プログラム医療機器 (SaMD) の評価体系を検証し、今後のあり方について検討が求められている」と指摘されており³⁾、さらなる制度の見直しが急務となっている。上記を受け、保険医療材料等専門組織の下にSaMDワーキンググループが設置され、保険診療上の評価のあり方等について、既に検討が始まっている。第2回、第3回のワーキンググループでは、業界6団体 (AI医療機器協議会、日本デジタルヘルス・アライアンス、日本医療ベンチャー協会、日本医療機器産業連合会、欧州ビジネス協会、米国医療機器・IVD工業会) へのヒア

-
- 1) Digital Medicine Society、「Digital Health, Digital Medicine, Digital Therapeutics (DTx):What's the difference?」(2023年5月24日閲覧)、<https://dimesociety.org/digital-health-digital-medicine-digital-therapeutics-dtx-whats-the-difference/>
- 2) 厚生労働省、令和4年度保険医療材料制度改革の概要 (令和4年3月4日版) (2023年5月9日閲覧)、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000920433.pdf>
- 3) 厚生労働省、中央社会保険医療協議会 総会 (第536回) 総-8-1 (令和5年1月18日) (2023年5月9日閲覧)、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001039392.pdf>

リングが行われ、SaMD ならではの価値や特性を考慮した診療報酬上の評価基準、評価軸の明確化等が議論されている^{4, 5)}。

このように、診療報酬制度の中で DTx を含む SaMD の価値を適切に評価するための検討が行われているが、これらの議論は緒についたばかりである。筆者は、診療報酬制度の中で多様な価値が評価されるためには、DTx の開発者と享受者（患者、医療従事者、保険者等）がともに、①価値を認識し（具体的な価値の提示並びに価値の重要性への共通理解）、②価値を合意し（評価されうる価値の妥当性への合意）、③価値を評価する（具体的な価値評価の仕組みの構築）というプロセスに関与することが不可欠と考える。しかしながら、現状、「DTx の多様な価値」は、必ずしも十分に整理されてはならず、社会の認識も不足している状況と言えよう⁶⁾。

そこで本稿では、診療報酬制度における DTx の多様な価値評価を見越し、多くの DTx 開発が進むドイツや医療技術評価に対して患者団体や医療専門家等の広範な声を考慮する英国の事例を参考に、DTx がもたらす多様な価値について考察する。

2. ドイツ・英国における DTx の現状

2-1. ドイツ

ドイツでは、2019年12月の Digital Supply Act の施行に伴い、DiGA（ドイツ語でデジタルヘルスアプリの意）として承認された DTx を、公的医療保険を通じて患者が利用できるようになった。承認取得に際しては、「安全性、使用適合性、データ保護、情報セキュリティ、品質（相互運用性等）」の各要件への準拠に加え、臨床効果（以下、ポジ

ティブケア効果）の証明が求められる。ただし、初回申請時にポジティブケア効果の証明は必須ではなく、文献による評価やポジティブケア効果に対する試験計画が認められれば、仮登録の形で有効期限（通常12か月、最長24か月）での保険償還が行われる。この間に、開発者には臨床試験やリアルワールドデータ等を活用したポジティブケア効果の実証が求められる。

ドイツにおける DTx の価値要素と言える「ポジティブケア効果」は「医療上の効果」と「患者に関連する構造及びプロセスの改善」の2つに大別される（表1）。連邦医薬品医療機器研究所（BfArM）の DiGA ガイドラインによると、「医療上の効果」とは臨床試験等で実証される治療効果であり、「患者に関連する構造及びプロセスの改善」は、疾病・障害の検出や治療等における患者の健康行動の支援及び患者と医療従事者間のプロセスの統合に関する効果と定義される⁷⁾。また、3項で詳述するが、「医療上の効果」及び「患者に関連する構造及びプロセスの改善」にはそれぞれ4個、9個の具体的な価値要素がガイドラインにて例示されている（表1）。これらの価値要素は、患者が直接享受する価値（患者が直接的に感じる価値）を前提としており、適切なエンドポイントによって証明されなければならない。

DiGAとして承認を得るためには、「医療上の効果」または「患者に関連する構造及びプロセスの改善」のいずれかに含まれる価値要素のうち、少なくとも1つを実証することが求められる。言い換えれば、「医療上の効果」の証明は必須ではなく、一例として、心不全患者の自己管理を支援し、健康状態の悪化を早期に検出することを目的とした ProHerz では、「患者に関連する構造及びプロ

4) 厚生労働省、令和5年度第2回プログラム医療機器等専門ワーキンググループ（令和5年4月18日）（2023年5月9日閲覧）、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001088033.pdf>

5) 厚生労働省、令和5年度第3回プログラム医療機器等専門ワーキンググループ（令和5年5月16日）（2023年5月17日閲覧）、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001096853.pdf>

6) DTx の価値に言及する団体も出てきており、日本デジタルヘルス・アライアンスは令和5年度第2回プログラム医療機器等専門ワーキンググループ（令和5年4月18日）において、「デジタル治療が提供し得る価値」を提示している。

7) BfArM、「The Fast-Track Process for Digital Health Applications (DiGA) according to Section 139e SGB V A Guide for Manufacturers, Service Providers and Users」(2023年3月27日閲覧)、https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/EN/MedicalDevices/DiGA_Guide.pdf?jsessionid=F4D0B731E09E1CF7096C0C53ECCE31A6.intranet242?__blob=publicationFile

表1 ドイツ：DiGA 承認に求められるポジティブケア効果の概要

分類	価値要素	概要	検証された製品数 (登録中の47製品 に対して)
医療上の 効果	①健康状態の改善	症状を軽減する	43製品
	②罹患期間の短縮	罹患期間を短縮する	—
	③生存期間の延長	症状の改善や早期発見等により、生存期間を延長する	—
	④生活の質の向上	病気へのより良い対処等により、QOL を改善する	9 製品
患者に関連 する構造及 びプロセス の改善	①治療手順の調整	医療提供者と患者の間での治療手順の調整を支援する	—
	②ガイドラインや認知さ れた治療基準との整合	患者が医師と対面していないときでも、ガイドラインや認知さ れた基準に沿った治療を保証する	1 製品
	③アドヒアランス	患者と医師が同意した、またはガイドラインに従う治療の一環 として必要な患者の治療参加を促進する	—
	④治療へのアクセス促進	居住地やその他の要因に関係なく、同等の信頼できる医療サー ビスを提供する	—
	⑤患者の安全性	患者自身が上昇した治療リスクや治療アプリケーションの不具 合、望ましくない個々の作用を自ら検知し、それに反応できる	—
	⑥ヘルスリテラシー	対象集団に見合うようにカスタマイズされた医療等情報の提供 により、情報の理解と実行が推進され、治療の確実な奏功が達 成される	2 製品
	⑦患者の自立性	患者の自立的な健康行動の実践並びに増強を通じ、患者が自ら の健康関連の決定プロセスに関与するのを効果的に支援する	3 製品
	⑧日常生活における疾患 関連の困難への対処	患者における疾患に関連する日常の困難の軽減並びに克服を支 援する	2 製品
	⑨患者・親族の治療関連 の労力と負担軽減	治療手順と疾患への日常の対応を計画し、患者及び家族の時間・ 労力の節約や回避可能な身体的または精神的負担を軽減する	1 製品

出所：BfArM、「The Fast-Track Process for Digital Health Applications (DiGA) according to Section 139e SGB V A Guide for Manufacturers, Service Providers and Users」⁷⁾ 及び「DiGA Directory」⁸⁾ の情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

セスの改善」の一要素である「ガイドラインや認知された治療基準との整合」のみを検証の対象としていた。ただし、両方のポジティブケア効果から複数の価値要素を証明することが、保険償還価格にプラスの影響を与える可能性があるとして

参考：ドイツの DTx 開発状況

ドイツにおける DTx の価値要素を調査するにあたり、背景情報として、ドイツのDTx (DiGA) 開発状況を俯瞰したい。DiGA Directoryの情報によると、2023年5月24日時点で承認されているDiGA は計47製品あり、現時点でポジティブケア

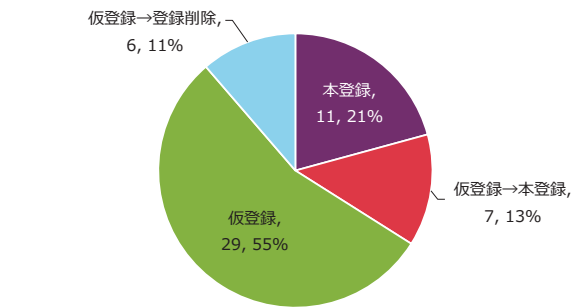
効果が証明された本登録品は18製品（仮登録から本登録に移行した7製品含む）、仮登録品は29製品あった（図1）⁸⁾。各年で見ると、毎年10以上の製品が承認を受けている。加えて、2020年5月の申請開始から約3年が経過し、7製品が仮登録から本登録に移行していたが、6製品が登録削除（4製品はポジティブケア効果が証明できず、2製品はメーカー意向によるもの）となっていた。また、対象となる疾患領域（ICD-10による分類⁹⁾）としては、精神及び行動障害（うつ病、広場恐怖症等）や筋骨格系及び結合組織（関節症、背部痛等）が多く、年次毎でも同様の特徴が見られた。

8) 連邦医薬品医療機器研究所 (BfArM)、「DiGA Directory」(2023年5月24日閲覧)、本稿で扱う DiGA の「承認」とは、本登録または仮登録された製品を指す、<https://diga.bfarm.de/de/verzeichnis?type=%5B%5D>

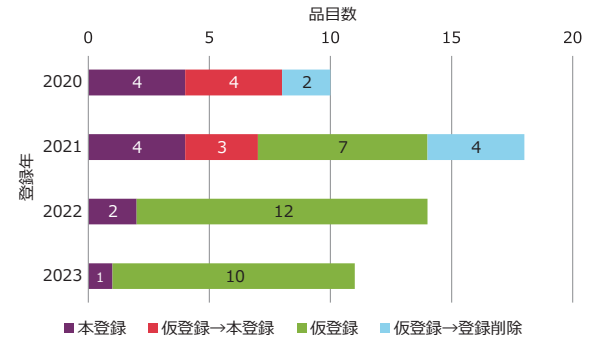
9) 厚生労働省、「疾病、傷害及び死因の統計分類」、<https://www.mhlw.go.jp/toukei/sippe/>

図1 ドイツ：DiGA 開発状況

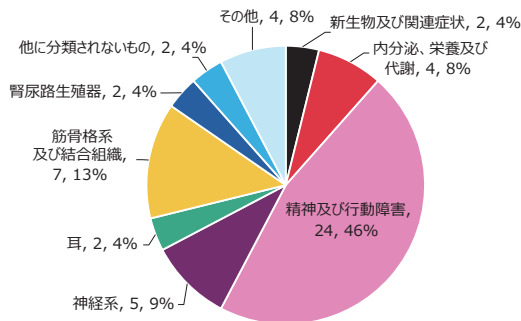
a) 登録数と分類



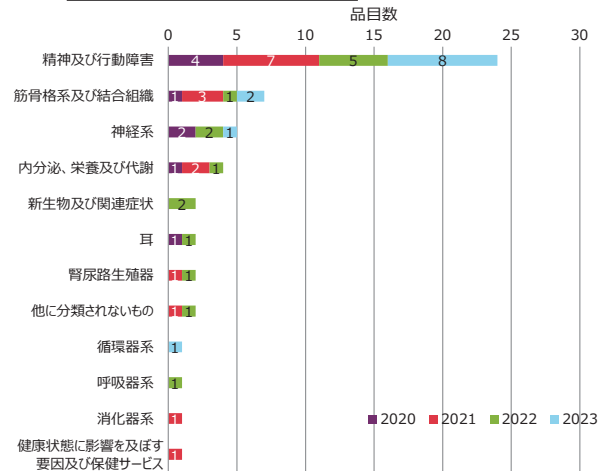
b) 登録数の経時変化



c) 対象疾患領域 (ICD-10)



d) 対象疾患領域の経時変化



注：図1 b)、d) の登録年は最初に登録された年を対象とし、仮登録から本登録または登録削除に移行した品目は、仮登録の年で集計した。

図1 c) のその他には、循環器系、呼吸器系、消化器系、健康状態に影響を及ぼす要因及び保健サービスを含む。また、図1 c)、d) において、1 製品で複数の疾患領域を含む場合、含まれる全ての疾患領域で製品数をカウントした。

出所：DiGA Directory⁸⁾ の情報（2023年5月24日時点）をもとに医薬産業政策研究所で作成

2-2. 英国

英国では、NICE（National Institute for Health and Care Excellence）が発行した「Evidence standards framework for digital health technologies」において、DTxが満たすべきエビデンス基準を規定している¹⁰⁾。DTxは利用者とシステムに対する潜在的なリスクが最も高いとされるTier C（健康への直接的な影響を伴う疾患治療や管理、診断等に使用されるもの）に該当し、設計要素（安全性と信頼性に関する適切な技術基準への準拠等）、価値

の説明（標準ケアシステムと比較したDTxの価値等）、パフォーマンスの実証（臨床試験等による有効性に関する証拠等）、価値の提供（費用対効果等）、導入に関する考慮事項（DTxの利点の実現されるための戦略等）の5つのカテゴリに分類される21の基準を満たすことが求められる¹¹⁾。この基準には、有効性や安全性以外の要素もあり、例えば、「価値の説明」では、システム効率やケアの結果、構造及び手順上の効果（structural and procedural effects）、コスト・リソースへの影響

10) NICE、Evidence standards framework for digital health technologies（2022年8月9日更新）（2023年6月1日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/corporate/ecd7>

11) 有効性や医療経済への影響等のエビデンス創出が困難な開発初期段階のデジタルヘルステクノロジーに対しては、21の基準のうち16の基準を満たすことで、早期展開を図っている。

(可能な場合、定量化)が含まれる¹²⁾。構造及び手順上の効果には、ケアへのアクセス、ヘルスリテラシー、ケアプランの順守、またはケアの調整が含まれる可能性があるとされており、ドイツにおける「患者に関連する構造及びプロセスの改善」と類似の価値が英国でも考慮されていると言えるであろう。

しかしながら、上記のエビデンス基準への該当が英国の保険制度内での採用に直結するわけではないことに留意が必要である。NICE では、DTx を含む新たな医療技術に対して、National Health Service (NHS) 及び医療機関での当該技術の採用判断を支援するための情報を与える「Medtech innovation briefings (MIB)」や、NHS での医療技術採用に推奨を与える根拠となる「Medical technologies guidance (MTG)」の作成にも関与しており、NHS等を通じたDTx利用に対しては、MIB や MTG での評価が重要となる。例えば、不眠症治療を目的とした DTx である Sleepio は、MTG での評価結果 (2022年5月20日公開) から、睡眠薬の効果的な代替品として NICE から推奨を受けた初めての DTx となった¹³⁾。また、有望な DTx へのアクセス促進という観点で、保健・社会保障の重点分野や国家評価にふさわしい分野において、NICE が国民のアンメットニーズに対処する医療技術の評価し、患者の早期アクセスを支援するための推奨を与える「Early Value Assessment (EVA)」が開始されている¹⁴⁾。これは、公募から選出された専門家が該当する医療技術の臨床の有効性と費用対効果を推定する制度であり、評価にあたり完全なエビデンスが求められない (臨床利用後のリアルワールドデータ等からエビデンスを生成する) 点でドイツの Fast Track と類似している。「使用推奨」となった場合、有期限

(例: 3 年間) での臨床使用が認められ、2023年5月末時点で3領域、10製品以上の DTx が推奨を得ている。

MIB や MTG、EVA の評価にあたっては、医療的效果や経済的コストに加え、患者団体 (家族含む) や医療専門家 (医師等) といった患者以外の生の声も考慮しているのが特徴である。2-1項のとおり、ドイツにおける DTx の評価は、患者が「直接的に」享受する価値を前提としており、基本的には家族や医療従事者等、患者の周囲が享受する価値は考慮されない。DTx がもたらす多様な価値を適切に捉えるためには、患者が直接的に享受する価値のみならず、広く社会に波及する価値も含め、多面的に検討していくことが不可欠と考える。DTx が社会に波及する価値の考慮においては、英国の取り組みが進んでいると言えよう。

3. DTx がもたらす価値とは

読者の皆様と共通認識を持つため、はじめに、筆者が考える「DTx がもたらす価値」の全体像を示したい (図2)。筆者は、DTx の価値を、その享受者の観点から「患者が直接的に感じる価値」または「患者の周囲に波及する価値」の2つに大別し、前者を「医療的価値」、後者を「社会的価値」と整理した。さらに、「医療的価値」を、有効性・安全性に基づく「治療的価値」と治療過程を構造的・プロセス的に最適化し、治療効果の向上または治療機会と自己管理能力の拡大に寄与する「支援的価値」に分類した。

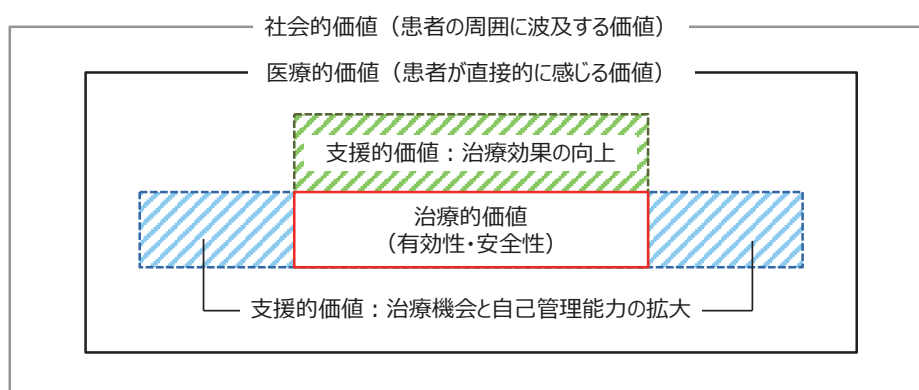
ここからは、ドイツ、英国の事例を参考に、整理したそれぞれの価値について詳細を述べる。

12) NICE, Evidence standards framework for digital health technologies, Standard 13: describe the expected health, cost and resource impacts compared with current care or system processes (2022年8月9日更新) (2023年6月1日閲覧)、<https://www.nice.org.uk/corporate/ecd7/chapter/how-to-meet-the-standards#describing-value>

13) Big Health, Press Release (2022年5月19日記事) (2023年6月1日閲覧)、<https://www.bighealth.com/news/sleepio-is-the-first-ever-digital-therapeutic-to-receive-nice-guidance-confirming-clinical-and-cost-effectiveness/>

14) NICE, Early Value Assessment (EVA) for medtech (2023年6月2日閲覧)、評価対象となるためには、CE/UKCA マークの取得や Digital Technology Assessment Criteria (安全性やデータ保護、セキュリティ等の基準) への準拠等が求められる、<https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/eva-for-medtech>

図2 筆者が考える「DTx がもたらす価値」の全体像



出所：本稿の調査結果をもとに医薬産業政策研究所で作成

3-1. 医療的価値について

3-1-1. 治療的価値

DTx とは「疾患等を治療、管理、予防するため、証拠に基づいた治療介入を提供するデジタル製品」であり、主たる目的の一つに「疾患治療」がある。治療の本質に関わる有効性及び安全性はDTx がもたらす価値のコア要素と言え、本稿では有効性・安全性に基づく価値を「治療的価値」と表現した。

DTx の有効性に関わる価値の要素としては、ドイツにおける「医療上の効果」が該当すると考える。「医療上の効果」として考慮されるアウトカムには、①健康状態の改善、②罹患期間の短縮、③生存期間の延長、④生活の質の向上の4つがあげられる（表1）。

3-1-1-1. 治療的価値に関連する事例

有効性：健康状態の改善

現在、ドイツで承認（本登録、仮登録）を受けている47製品に対し、どのような医療上の効果が検証対象であったかを調査した結果、43製品（91%）で健康状態の改善を検証していた。具体的な検証項目としては、不安やうつ症状、疼痛といった疾患由来の症状の軽減や喫煙状態、体重、HbA1c等の疾患関連指標の改善等があった（表2）。

有効性：生活の質の向上

47製品のうち9製品（19%）が生活の質の向上を検証しており、さらに6製品は健康状態の改善も併せて検証していた。残る3製品（適応疾患：乳がん、多発性硬化症、子宮内膜症）は、生活の質の向上のみを医療上の効果としており、疾患特有の機能障害（疼痛、睡眠障害等）や心理的障害（不安、無力感等）の管理、改善等に伴う生活の質の向上を検証していた。

【参考】有効性：生存期間の延長

DiGA において実証事例が認められなかった医療上の効果の一つに、「生存期間の延長」がある。参考となるが、DiGA としては登録されていないがん領域のDTx においていくつかの事例が存在する。例えば、フランスで初めて保険償還されたMoovcare は、肺がん患者が毎週入力する症状からがんの再発や合併症のリスクを解析するとともに、特異な変化により高リスクと判断された場合、医師に診察や検査の検討を促すアプリである。Moovcare の使用により、1年生存率を約3割改善¹⁵⁾、全生存期間を7.6か月延長すること¹⁶⁾が証明されている。同様にがん患者の症状記録を医師等と共有し、適切な治療管理を行うアプリであるKaiku Healthは、電子患者報告アウトカムの利用

15) Fabrice Denis, Suivi et survie des patients atteints de cancer du poumon par web-application Web-mediated follow-up and prognosis in lung cancer patients, Med Sci (Paris) 2018 ; 34 : 590-594

16) Fabrice Denis, et.al, Two-Year Survival Comparing Web-Based Symptom Monitoring vs Routine Surveillance Following Treatment for Lung Cancer, JAMA. 2019;321 (3):306-307.

表2 ドイツ：医療上の効果に対する検証

名称	適応疾患領域 (ICD-10)	適応疾患	健康状態の改善：検証項目	生活の質の向上： 検証項目
optimune	新生物及び関連症状	乳がん	—	疾患関連のQOL向上
PINK! Coach		乳がん	疾患に起因する精神的ストレスの軽減	—
HelloBetter Diabetes und Depression		糖尿病（1型、2型）	うつ病症状の軽減	—
Oviva Direkt		肥満	体重減少	—
Vitadio	内分泌、栄養及び代謝	糖尿病（2型）	HbA1cの低下	—
zanadio		肥満	体重減少	幸福度及び疾患関連のQOL向上
deprexis		うつ病	抑うつ症状の軽減	—
edupression.com		うつ病	うつ病の重症度の変化	—
elona therapy Depression		うつ病	うつ病症状の軽減	—
HelloBetter Panik		広場恐怖症、パニック障害	パニック症状の重症度の軽減	—
HelloBetter ratiopharm chronischer Schmerz		持続性身体表現性疼痛障害、背部痛等	疼痛障害（痛みが日常活動や生活への参加を妨げる程度）の軽減	—
HelloBetter Schlafen		不眠症、入眠障害	不眠症の症状軽減	—
HelloBetter Vaginismus Plus		非有機性膣痙攣等	性交時の膣挿入能力の改善	—
Invirto		広場恐怖症等	広場恐怖症、パニック障害、社交恐怖症の不安症状の軽減	—
Mindable		広場恐怖症、パニック障害	不安とパニックの症状軽減	—
My7steps App		うつ病	精神症状の大幅な軽減	—
NeuroNation MED		軽度の認知障害	軽度認知障害患者の認知能力（注意、記憶、言語、知覚、実行機能等）の改善	—
NichtraucherHelden-App		禁煙	禁煙の成功及び健康（咳、息切れ）の改善	疾患関連のQOL向上
Novego Ängste überwinden		広場恐怖症等	不安症状の軽減	—
Novego: Depressionen bewältigen		うつ病等	うつ病症状の改善	—
priovi		情緒不安定性パーソナリティ障害：境界型	境界症状の軽減	—
Selfapys Online-Kurs bei Binge-Eating-Störung		摂食障害	過食症の中核症状の軽減	—
Selfapys Online-Kurs bei Bulimia Nervosa		神経性過食症	神経性過食症の中核症状の軽減	—
Selfapys Online-Kurs bei chronischen Schmerzen		持続性身体表現性疼痛障害、背部痛	痛みによる機能障害の軽減	—
Selfapys Online-Kurs bei Depression		うつ病	うつ病症状の軽減	—
Selfapys Online-Kurs bei Generalisierter Angststörung		全般性不安障害	全般性不安障害の症状軽減	疾患関連のQOL向上
Smoke Free		禁煙	禁煙の成功	—
somnio		不眠症、入眠障害	不眠症状（入眠困難、睡眠継続困難、早朝覚醒等）の軽減	—
velibra		広場恐怖症等	不安症状や抑うつ症状の軽減	—
vorvida		アルコール依存症	アルコール消費量の低減	—
elevida		多発性硬化症	疲労の軽減	—
levidex	神経系	多発性硬化症	—	疾患関連のQOL向上
sinCephealea		片頭痛	片頭痛の日数の減少	—
Kalmeda		耳鳴り	耳鳴りの負担（ストレス）の軽減	—
My Tinnitus App	耳	耳鳴り	耳鳴りの負担（感情、認知、緊張、心理社会的苦痛、睡眠障害、集中力の低下等）の軽減	—
ProHerz	循環器系	心不全	—	—
Kaia COPD	呼吸器系	慢性閉塞性肺疾患	身体能力の改善（座位・立位の脚力テスト）	疾患関連のQOL向上
Cara Care for irritable bowel syndrome	消化器系	過敏性腸症候群	過敏性腸症候群に特有の症状及び併存症状（不安感、抑うつ感等）の軽減	疾患関連のQOL向上
companion patella		膝蓋大腿部の疾患等	膝蓋大腿関節の痛みと機能制限の軽減	—
Kaia Rückenschmerzen		背中への痛み	痛みのレベルの軽減	—
Mawendo	筋骨格系及び結合組織	膝蓋骨の障害	痛みの軽減及び機能改善	—
re.flex		変形性膝関節症等	痛みと日常生活活動の困難の軽減	—
Vivira		骨軟化症等	腰痛の軽減	—
Endo-App		子宮内膜症	—	疾患関連のQOL向上
Kranus Edera	腎尿路生殖器	器質的原因によるインポテンズ	勃起不全の改善	疾患関連のQOL向上
neolexon Aphasie	他に分類されないもの	失語症等	言語スキル（聴覚理解、読解、口頭及び書き言葉の生成）の改善	—
HelloBetter Stress und Burnout	健康状態に影響を及ぼす要因及び保健サービス	生活の困難に関する問題	ストレスレベルの軽減	—

出所：DiGA Directory[®] の情報（2023年5月24日時点）をもとに医薬産業政策研究所で作成

により全生存期間の中央値が5.2か月延長するという研究結果に基づき、アルゴリズムが設計されている¹⁷⁾。他方、がん領域に特化したものではないが、複数の臨床試験のメタ解析において、デジタルヘルスの介入により、全死因死亡率（10.2%から8.5%）並びに心血管死亡率（9.6%から7.3%）を有意に低下させるという結果も出ている¹⁸⁾。

安全性

安全性には、DTx本体の安全性（医療機器としての適格性）に加え、DTxの使用に伴い認められる人体への侵襲性が含まれる。DTxは医療機器として認証を受けたデバイスであること、アプリ等を通じた介入のため、直接身体に作用することが想定されていないことから、一般的に物理的な侵襲性は低いと言える。ただし、個人に対し不適当な（ある患者に対しては有効だが、ある患者に対してはふさわしくない）情報提供や介入がなされた場合、心身に悪影響を及ぼす可能性があり、安全性上の懸念は残ることを付言する。

3-1-2. 支援的価値

冒頭で述べたとおり、DTxは、「日常の連続データの取得」や「デジタル技術を用いた治療介入」、「教育の提供による疾患理解の促進」といった特徴を有す。このような特性を活かし、治療効果の提供そのものによる貢献だけでなく、データを通じた日常からの疾患管理やデジタル技術を活用した新たな治療選択肢の提供、治療に対する患者意識の変容による積極的な治療参画の促進等、「治療を中心とした一連の過程の最適化」を通じ、もたらされる価値があると筆者は考える。本稿では、治療過程を構造的・プロセス的に最適化し、「治療効果の向上」または「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する（治療を支援する）価値を「支援的価値」と整理した。

支援的価値の要素として、ドイツにおける「患者に関連する構造及びプロセスの改善」を基本に考えたい。「患者に関連する構造及びプロセスの改善」には、①治療手順の調整、②ガイドラインや認知された治療基準との整合、③アドヒアランス、④治療へのアクセス促進、⑤患者の安全性、⑥ヘルスリテラシー、⑦患者の自立性、⑧日常生活における疾患関連の困難への対処、⑨患者・親族の治療関連の労力と負担軽減の9つの要素が含まれる（それぞれの価値要素の概要は表1に記載）。これらの価値要素を踏まえ、支援的価値を考える上で重要となるのは、「治療効果の向上への寄与」、もしくは「治療機会と自己管理能力の拡大（迅速な治療アクセス、良好な治療経過等）への寄与」という2つの視点であると筆者は考える。これらの視点から、ドイツにおける「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に関わる9つの価値要素を分類したのが表3である。ここからは、表3の分類をもとに、「治療効果の向上」または「治療機会と自己管理能力の拡大」に対して、DTxがもたらす価値を考える。

「治療効果の向上」に寄与する価値

表3のとおり、ドイツにおける9つの価値要素のうち、「治療へのアクセス促進」を除く8つはいずれも治療効果の向上に寄与する価値要素と考える。

例えば、「治療手順の調整」や「ガイドラインや認知された治療基準との整合」といった価値要素は、日常で取得されるデータを介して医療従事者とのコミュニケーションを向上させるとともに、治療の空白期間も含めた適切な介入を行い、個人に合った治療の提供や早期介入による重症化の防止等が期待される。また、「患者の安全性」では、データを介したリアルタイムでの疾患管理を通じて、重症化イベントを早期発見し、患者自身（ま

17) Kaiku Health, 「ASCO, 2017: Web-based symptom reporting extends the lives of cancer patients」(2017年6月9日)、<https://kaikuhealth.com/asco-2017-web-based-symptom-reporting-extends-lives-cancer-patients/>

18) Ayman Elbadawi, et.al, Digital health intervention in patients with recent hospitalization for acute heart failure: A systematic review and meta-analysis of randomized trials, International Journal of Cardiology, VOLUME 359, P46-53, JULY 15, 2022

表3 筆者が考える支援的価値に対する各要素の寄与

支援的価値の要素 (患者に関連する構造及びプロセスの改善)	支援的価値	
	治療効果の向上	治療機会と自己管理能力の拡大
①治療手順の調整	○	
②ガイドラインや認知された治療基準との整合	○	
③アドヒアランス	○	
④治療へのアクセス促進		○ (居住地の制約低減等)
⑤患者の安全性	○	
⑥ヘルスリテラシー	○	○ (良好な治療経過 (予後の健康維持))
⑦患者の自立性	○	○ (良好な治療経過 (予後の健康維持))
⑧日常生活における疾患関連の困難への対処	○	※ (患者の生産性向上)
⑨患者・親族の治療関連の労力と負担軽減	○	○ (診療待ち時間の低減等)

注：○は該当する価値要素の寄与があることを示す。

※「日常生活における疾患関連の困難への対処」で認められた「患者の生産性向上」は、治療の結果として患者が直接的に感じる価値であり、「支援的価値」の一つとも言えるが、生産性の対象となる労働や家事、育児等の向上は、患者の周囲（社会）に波及する価値と言えるため、本稿では後述する「社会的価値」の一つとして整理した。

出所：本稿の調査をもとに医薬産業政策研究所で作成

たは家族）が望ましくない事象を迅速に把握することを可能とする。

加えて、日常の連続データの活用やデジタル技術を用いた治療介入により、全国どこでもガイドラインや認知された治療基準と整合した治療（同等の治療）を患者が享受できることは、医療の質の均てん化（医療の質の担保）につながることを期待される。

また、「アドヒアランス」や「ヘルスリテラシー」、「患者の自立性」は、患者への適切な教育の提供により疾患理解を促し、患者の積極的な治療参画や確実な奏功を図る。「日常生活における疾患関連の困難への対処」や「患者・親族の治療関連の労力と負担軽減」も同様に、疾患への適切な対処法や疾患理解に関する教育を通じ、日常における疾患関連の困難や負担等へのレジリエンス（回復力）を向上させ、治療効果を高めると言える。

「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する価値

本稿における「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する価値とは、患者の希望に沿った適切な治療へのアクセス確保や治療関連の負担軽減、良好な治療経過（予後の健康維持）をもたらす価値

を指す。表3に示すとおり、ドイツにおける9つの価値要素のうち、「治療へのアクセス促進」、「ヘルスリテラシー」、「患者の自立性」及び「患者・親族の治療関連の労力と負担軽減」がこの価値に寄与する要素と考える。

例えば、「治療へのアクセス促進」では、居住地や患者特性（妊娠、治療への抵抗感等）等により、適切な治療へのアクセスが困難であった患者に新たな治療選択肢の提供を可能とする。また、「患者・親族の治療関連の労力と負担軽減」では、精神疾患等において、専門医の不足等により治療開始まで多くの待ち時間を強いられていた患者に対し、アプリ等のデジタル技術を介した迅速な治療アクセスを実現することが期待できる。

また、「ヘルスリテラシー」、「患者の自立性」は、適切な教育の提供により、疾患に対する意識変容と健康行動の実践を患者にもたらす。つまり、DTxは、患者のヘルスリテラシーや自立性（自己効力感）の向上を通じて、罹患により低下した心身の状態を罹患前の状態に戻すだけでなく、罹患前より強化し、疾患の再発や重症化等を防ぐことが期待できるのではないだろうか。実際には、ヘルスリテラシーや患者の自立性の向上と予後の健康維

持（再発予防等）の関係性の検証等が必要となろうが、これらは良好な治療経過をもたらす価値要素と言えよう。

なお、後述する「日常生活における疾患関連の困難への対処」の事例において認められた「患者の生産性向上」は、治療の結果として患者が直接的に感じる価値であり、「医療的価値（支援的価値）」の一つとも言える。しかしながら、生産性の対象となる労働や家事、育児等は程度の差はあれ、患者の周囲に影響を及ぼすものである。そのため、患者の生産性向上は社会に波及する価値と言え、本稿では「社会的価値」の一つとして整理した。

3-1-2-1. 支援的価値に関連する事例

ここからは、支援的価値に関連する具体的な検証事例について、各価値要素のアウトカムを含め確認する。

現在ドイツで承認を受けている47製品において、支援的価値に関連する検証事例（「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に関わる事例）を見ると、ガイドラインや認知された治療基準との整合：1製品、ヘルスリテラシー：2製品、患者の自立性：3製品、日常生活における疾患関連の

困難への対処：2製品、患者・親族の治療関連の労力と負担軽減：1製品の事例があった（表4、同一製品で複数の価値要素が該当する場合、個別にカウントした）。

ガイドラインや認知された治療基準との整合

「ガイドラインや認知された治療基準との整合」は、患者が医師と対面していないときでも、ガイドラインや認知された基準に沿った治療を保証する価値要素である。

ガイドラインに基づいた治療の実施と重症化の予防・早期検出等を目的とする ProHerz は、日常のバイタルデータの記録から、心不全患者の自己管理を支援するとともに、デジタル技術を介し、重症化予防のためのパーソナライズされたヘルスコーチング等を提供する。ProHerz の検証においては、心不全患者のセルフケア行動（生命維持、健康的な機能、幸福感を得るための行動）の程度をアウトカムとしている。また、ポジティブケア効果の検証対象とはなっていないが、ガイドラインや認知された治療基準と整合した治療の提供が患者の健康改善や生活の質向上に寄与している。

表4 ドイツ：支援的価値に関連する検証事例

価値要素	名称	適応疾患	アウトカム
ガイドラインや認知された治療基準との整合	ProHerz	心不全	心不全患者のセルフケア行動（生命維持、健康的な機能、幸福感を得るための行動）の程度
ヘルスリテラシー	edupression.com	うつ病	うつ病を認識し、治療について十分な情報に基づいた決定を下す能力
	Cara Care for irritable bowel syndrome	過敏性腸症候群	ヘルスケア、疾病予防、健康増進における情報のアクセス、理解、評価、適用する能力
患者の自立性	Mindable	広場恐怖症、パニック障害	抑うつ症状や不安症状に関連するコントロールの知覚
	vorvida	アルコール依存症	ある状況下での（誘惑に対する）飲酒を避ける能力についての個人の自信
	Kranus Edera	器質的原因によるインポテンス	自身の健康とウェルネスの管理に対する知識、スキル、自信
日常生活における疾患関連の困難への対処	My Tinnitus App	耳鳴り	治療に伴う気分や行動（リラックス/緊張、気分、自尊心、社会的相互作用、意味、行動能力）の変化
	Cara Care for irritable bowel syndrome	過敏性腸症候群	仕事の生産性及び日常生活への障害（欠勤/休業（アブセンティーズム）、労働生産性の低下（プレゼンティーズム）、日常生活（家事、学業、買い物、育児等）の障害等）
患者・親族の治療関連の労力と負担軽減	velibra	広場恐怖症等	心理的問題を抱える人々の一般的な心理苦痛の度合い

注：「日常生活における疾患関連の困難への対処」で認められた「患者の生産性」は、本稿において「社会的価値」に関わるアウトカムと整理している。

出所：DiGA Directory⁸⁾の情報（2023年5月24日時点）をもとに医薬産業政策研究所で作成

ヘルスリテラシー

「ヘルスリテラシー」は、対象集団に見合うようにカスタマイズされた医療等情報の提供により、情報の理解と実行を推進し、治療の確実な奏功を実現する価値要素である。

edupression.com は、うつ病患者向けのオンラインベースの心理教育の提供により、うつ病に関する知識を向上させ、症状の軽減を図ることを目的とした DTx である。ヘルスリテラシーの検証に対しては、「うつ病を認識し、治療について十分な情報に基づいた決定を下す能力」をアウトカムとしており、うつ病症状の軽減への寄与が期待される。加えて、うつ病に関する患者の知識を高めることは、病気の経過にもプラスの影響を与える可能性が指摘されており、再発の確率を最大50%減少させるとしている¹⁹⁾。

また、過敏性腸症候群に対する Cara Care for irritable bowel syndrome は、個別の心理教育の提供を通じ、治療成功に必要な患者のヘルスリテラシー向上を効果の一つとしている。「ヘルスケア、疾病予防、健康増進における情報のアクセス、理解、評価、適用する能力」をアウトカムとした検証が行われており、ヘルスリテラシーの向上が、過敏性腸症候群並びに併存する症状（不安感、うつ病）の緩和や生活の質向上に寄与するとしている。

患者の自立性

「患者の自立性」は、患者の自立的な健康行動の実践並びに増強を通じ、患者が自らの健康関連の決定プロセスに関与するのを効果的に支援する価値要素である。

Mindable は自身で記録した症状や出来事、行動を医師等と共有することで疾患を管理するとともに、適切な心理的教育の提供により、自己効力感や不安に関連した制御能力を向上させる。「抑うつ症状や不安症状に関連するコントロールの知覚」をアウトカムとしており、患者の自立性が広場恐怖症及びパニック障害の症状軽減に寄与することが検証されている。

vorvida は、認知行動療法に基づき、患者自身

が飲酒行動を管理し、飲酒量を減らすスキルを身につけることを支援する。この過程を通じ、自己効力感を高め、再発を予防することも目的の一つとしている。この検証では、「ある状況下での（誘惑に対する）飲酒を避ける能力についての個人の自信」をアウトカムとしており、アルコール消費量の低減に寄与している。

また、器質的原因によるインポテンスの治療に用いられる Kranus Edera は、身体的トレーニングや心理的サポート、疾患に対する教育等を通じ、患者による積極的な治療参画を支援する。この効果の検証には、「自身の健康とウェルネスの管理に対する知識、スキル、自信」がアウトカムとして用いられ、患者の自立性が勃起不全の改善及び生活の質向上に寄与するとしている。

日常生活における疾患関連の困難への対処

「日常生活における疾患関連の困難への対処」は、疾患に関連した日常の困難の軽減並びに克服を支援する価値要素である。

My Tinnitus App では、「治療に伴う気分や行動（リラックス／緊張、気分、自尊心、社会的相互作用、意味、行動能力）の変化」をアウトカムとした検証が行われており、耳鳴りに特化した心理教育と自己管理のための指示を患者に提供し、耳鳴りの症状や苦痛、ストレスの軽減をもたらすとしている。

一方、Cara Care for irritable bowel syndrome では、「仕事の生産性及び日常生活への障害」をアウトカムとし、疾患（過敏性腸症候群）により低下した仕事や日常生活活動の生産性にプラスの効果を与えるとしている。なお、前述のとおり、本稿では、患者の生産性向上を「社会的価値」の一つとして整理していることに留意いただきたい。

患者・親族の治療関連の労力と負担軽減

「患者・親族の治療関連の労力と負担軽減」は、患者及び家族の時間・労力の節約や回避可能な身体的または精神的負担を軽減するという価値要素である。

19) edupression.com 社ホームページ（2023年6月9日閲覧）、<https://edupression.com/>

velibraは、広場恐怖症等に対し、認知行動療法に基づく疾患への対処法やリラクゼーションエクササイズ等に関する情報提供により、患者の不安症状等の軽減を支援することを目的としている。臨床試験において、「心理的問題を抱える人々の一般的な心理苦痛の度合い」をアウトカムとした検証を行っており、疾患や治療関連の心理的ストレスの軽減が、健康状態の改善（不安症状や抑うつ症状の軽減）につながるとしている。

治療へのアクセス促進及び患者・親族の治療関連の労力と負担軽減

ここで挙げた2つの価値要素は、治療のアクセス性改善や治療を受けるまでの患者の待ち時間の低減等を通じ、それぞれの患者にとって適切な治療を迅速に提供することに寄与する。ドイツにおいてこれらを検証した事例は認められなかった

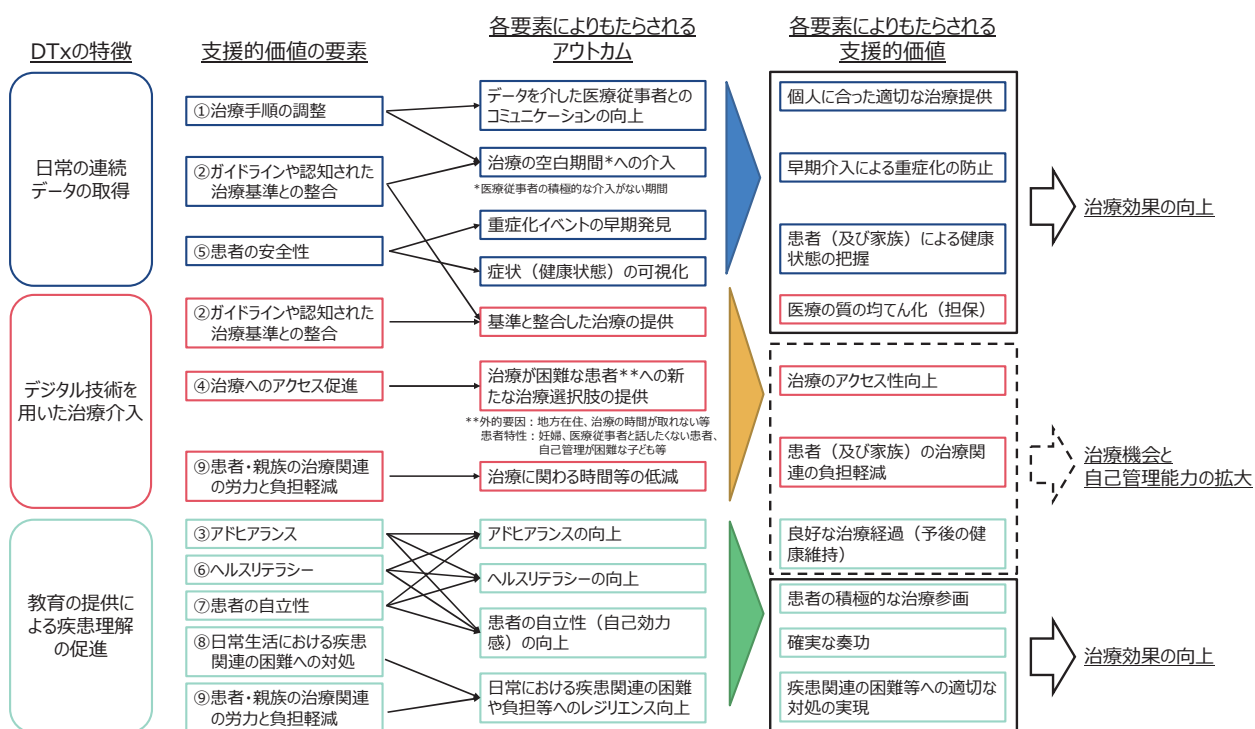
が、関連する英国での評価事例を参考としたい。

不眠症に対して用いられる Sleepio は、不眠症を患う妊婦に対し、医薬品を使用しない代替選択肢を提供できることを利点としている²⁰⁾。また、全般的な不安障害等の治療に用いられる Daylight は、医療専門家と話したくない人へ治療機会を提供したり、専門家による介入が必要であった認知行動療法の実施をアプリが支援することにより治療の待ち時間を削減したりすることが期待できると評価されている²¹⁾。

3-1-2-2. 支援的価値の整理

以上を踏まえ、筆者が考える DTx によりもたらされる支援的価値を図3にまとめる。ドイツにおける「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に関する9つの価値要素を、支援的価値の要素とし、各要素によりもたらされるアウトカムから

図3 筆者が考える DTx によりもたらされる支援的価値



注：各要素によりもたらされる支援的価値のうち、実線枠で囲んだものは「治療効果の向上」に寄与する価値、破線枠で囲んだものは「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する価値である。

出所：本稿の調査をもとに医薬産業政策研究所で作成

20) NICE、Medical technologies guidance [MTG70]、Sleepio to treat insomnia and insomnia symptoms（2022年5月20日公開）（2023年5月16日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/guidance/mtg70>

21) NICE、Medtech innovation briefing [MIB309]、Daylight for treating generalised anxiety disorder in adults（2022年10月11日公開）（2023年5月16日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/advice/mib309>

DTxの支援的価値を設定した。これらのうち、実線枠で囲んだものは「治療効果の向上」に寄与する価値、破線枠で囲んだものは「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する価値である。

3-2. 社会的価値について

医療的価値と同様、DTxの利用が社会に波及する価値（社会的価値）もDTxがもたらす価値として認識されることが望ましいと筆者は考える。英国における医療技術の評価事例を参考に、家族（家族介護者）、医療従事者、保険者の視点から、社会的価値について整理したい。

家族（家族介護者）視点の価値

家族（家族介護者）視点の価値として、医薬品では「介護負担の軽減」に言及されている²²⁾。DTxも同様に、治療に伴う早期の健康回復等を通じ、家族の介護負担を軽減することが期待されるが、他方、DTxには、連続モニタリングによる症状管理や遠隔での治療介入といった医薬品にはない特徴がある。例えば、リアルタイム血糖モニタリングシステムである Dexcom G6では、低血糖のアラート機能により、夜間（真夜中）の血糖検査の必要性を減らすことで、糖尿病を抱える子どもの親や介護者の負担を軽減する可能性が患者団体から示されている²³⁾。さらに、親や介護者が糖尿病の子どもから離れているときに経験する可能性のある不安を減らすことも指摘されており、これらは家族の心理的負担を軽減する価値と言えよう。

また、「軽度から中等度の不安または気分の落ち込みの症状を持つ子どもや若者のためのガイド付きセルフデジタル認知行動療法」に対するEVAでは、4種類のDTxの使用が推奨されており、これらのDTxによる遠隔治療が、公共交通機関が乏しく、親が車で送迎できない地方の患者の治療アクセスを高めると言及されている²⁴⁾。これまで未治療であった患者への新たな治療選択肢の提供という観点が主であるが、対面式の治療のため、長時間の移動に付き添っていた家族介護者の負担軽減も期待できると言えるのではないかな。

医療従事者視点の価値

医療従事者視点の価値として、「医療資源の効率化」が考えられる。具体例として、うつ病治療に用いられるSpace from Depressionでは、一連の治療に要するセラピストの対応時間を約137分短縮することが示されている²⁵⁾。また、2型糖尿病に対し、過去及び現在の血糖値からインスリン投与量を最適化するアプリであるd-Navは、患者の血糖値管理に対する医療従事者の介入を減らすことで、医療従事者が糖尿病管理以外の分野に多くの時間を集中できるようになると言及されている²⁶⁾。加えて、最大呼気流量（ピークフロー）のモニタリングにより喘息患者の症状管理を行うSmart Peak Flowでは、医療従事者との喘息データの共有を通じ、医療従事者が患者の状態を容易に把握し、状態に合わせた治療内容の変更に迅速に対応可能となることが医療専門家から指摘されている^{27、28)}。

22) 医薬産業政策研究所、「医薬品の多様な価値 ―国民視点および医療環境変化を踏まえた考察―」、リサーチペーパー・シリーズ No.79（2022年3月）

23) NICE、Medtech innovation briefing [MIB233]、Dexcom G6 for real-time continuous glucose monitoring（2020年11月3日公開）、（2023年5月15日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/advice/mib233>

24) NICE、Early Value Assessment Programme、[MT580]：Guided self-help digital cognitive behavioural therapy for children and young people with mild to moderate symptoms of anxiety and low mood External Assessment Group report（2023年6月2日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/guidance/hte3/documents/assessment-report>

25) NICE、Medtech innovation briefing [MIB215]、Space from Depression for treating adults with depression（2020年5月7日公開）（2023年5月15日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/advice/mib215>

26) NICE、Medtech innovation briefing [MIB285]、d-Nav insulin management app for type 2 diabetes（2022年2月8日公開）（2023年5月15日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/advice/mib285>

27) NICE、Medtech innovation briefing [MIB282]、Smart Peak Flow for monitoring asthma（2022年1月11日公開）（2023年6月12日閲覧）、<https://www.nice.org.uk/advice/mib282>

28) NICE、Medical technologies guidance [MTG52]、Zio XT for detecting cardiac arrhythmias（2020年12月1日公開）（2023年5月15日閲覧）、診断支援を目的とする医療技術であるが、連続的な心電図モニタリングを介して不整脈の検出に寄与するZio XTにおいては、心電図データを分析したレポートの提供により、データ分析にかかる医療従事者の負担を軽減できると指摘されている、<https://www.nice.org.uk/guidance/mtg52>

保険者視点の価値

保険者視点の価値として、DTxの利用による投薬量の削減や重症化の防止等を通じた「医療コストの適正化」が考えられる。例えば、不眠症に対して用いられる Sleepio は、診察や投薬の削減により、通常の治療と比較し、1人あたり年間4.52ポンド、3年間の推定で90.08ポンドのコスト削減が見込めると試算している^{20、29)}。また、前述の糖尿病管理システムである Dexcom G6や d-Nav では、重度低血糖や合併症の発生を低減することで、医療コストの低減が期待される^{23、26)}。加えて、慢性閉塞性肺疾患（COPD）を遠隔管理する Lenus COPD Support Service では、患者から報告されたアウトカムやウェアラブルデバイス等のデータを医療従事者と共有することで、入院が必要とな

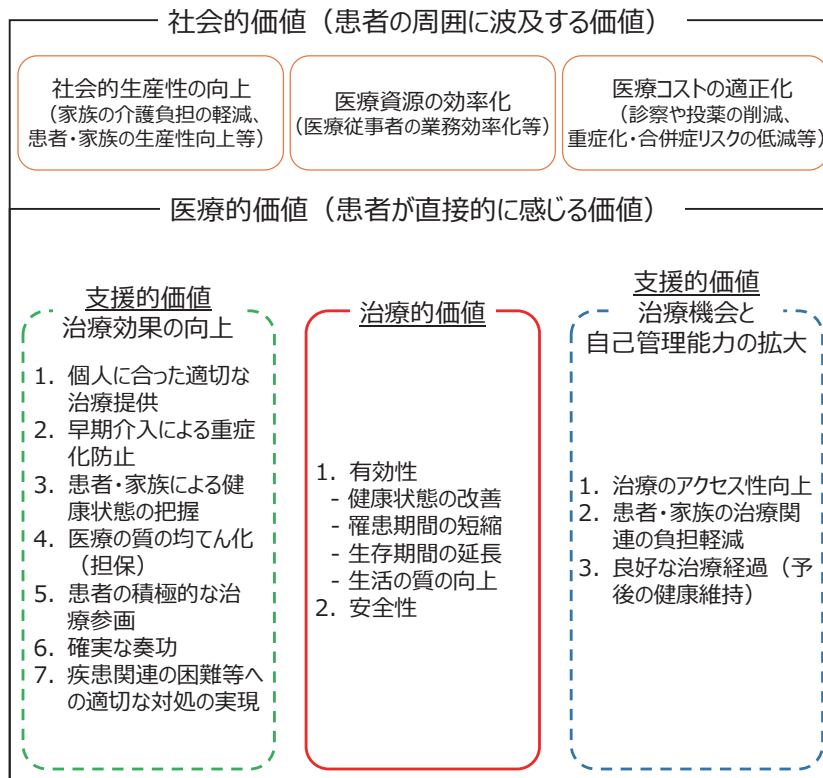
る症状増悪のイベントを減少するとしている³⁰⁾。

社会的価値の考慮にあたっては、介護負担や生産性に関するアウトカム、標準治療と比較し削減される対応時間・コスト等を定量的に示し、関係者の理解を得ることが重要である。しかしながら、英国同様、必ずしも定量化できない価値にも目を向け、価値享受の当事者である患者団体（家族介護者含む）や医療専門家等の生の声を考えることも不可欠な視点と言える。

3-3. DTx がもたらす価値の整理

DTx がもたらす多様な価値を図4のとおり整理した。DTx がもたらす価値のコアとなるのは、健康状態の改善等による治療的価値であり、さら

図4 筆者が考える DTx がもたらす価値の整理



注：治療的価値の左側に示した支援的価値は「治療効果の向上」に寄与する価値、右側に示した支援的価値は「治療機会と自己管理能力の拡大」に寄与する価値である。

出所：本稿の調査をもとに医薬産業政策研究所で作成

29) 適用するコストモデルにより削減するコストの試算が変わることに留意が必要である。

30) NICE、Medtech innovation briefing [MIB300]、Lenus COPD Support Service for remotely managing chronic obstructive pulmonary disease (2022年7月5日公開) (2023年5月16日閲覧)、<https://www.nice.org.uk/advice/mib300>

にその周囲に支援的価値が存在する。これら2つは患者が直接的に感じる価値であり、本稿では医療的価値と総称する。支援的価値は、ドイツにおける「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に関わる要素によりもたらされる価値とし、治療過程を構造的・プロセス的に最適化し、治療効果の向上または治療機会と自己管理能力の拡大に寄与する10個の価値と整理した。支援的価値は、DTxが有する特徴（日常の連続データの取得、デジタル技術を用いた治療介入、教育の提供による疾患理解の促進等）によりもたらされるアウトカムに基づいており、「DTx 特有の価値」と捉えることが可能であろう。

また、医療的価値に加え、DTxの利用が社会に波及する価値（社会的生産性の向上、医療資源の効率化、医療コストの適正化）も同様に認識されるべき価値（社会的価値）として整理した。これらの社会的価値のいくつかは、医薬品でも同様に評価されるべき価値として言及されており、医薬品の多様な価値評価の議論を参考にした取り組みも重要となると考える。

4. まとめ

本稿では、ドイツ、英国の事例を参考に、価値享受者の観点から、DTxがもたらす価値を「医療的価値」と「社会的価値」の2つに大別し、それ

ぞれに関連する価値を体系的に整理した。前述のとおり、医療的価値の中でも、治療過程を最適化し、治療効果の向上または治療機会と自己管理能力の拡大に関わる「支援的価値」はDTxの特性によりもたらされる「DTx 特有の価値」と考える。イノベーションを適切に評価し、革新的なDTxが継続的に生み出される環境を構築するためには、有効性・安全性といった医療的価値に加え、本稿で示した「支援的価値」や「社会的価値」も含めて考慮される仕組みを整備することが求められよう。

一方、産業側としては、診療報酬制度におけるDTxの多様な価値の評価の必要性を求めるだけでなく、その価値を客観的に評価できるエビデンスを創出するとともに、価値の享受者へ正しく伝えていくことが不可欠と考える。産業側がまずなすべきことはDTxの多様な価値を具体的に提示し、産官学民のステークホルダーとDTxの多様な価値について議論していくことではないだろうか。

今後、デジタル技術の進歩に伴い、生まれる新たなDTxに応じて、もたらされる価値やその要素は見直されていくべきであるが、本稿がDTxの多様な価値の議論を促進する一助となることを期待する。

デジタルセラピューティクス (DTx) のアウトカム測定ツールの動向 —臨床試験データベースを用いた調査—

医薬産業政策研究所 主任研究員 辻井 惇也

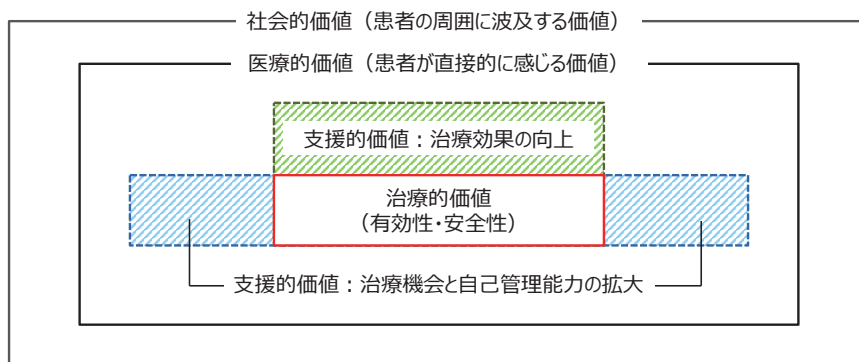
1. はじめに

筆者は政策研ニュースNo.69において、デジタルセラピューティクス（以下、DTx）がもたらす多様な価値の体系的整理を行った¹⁾。そこでは、価値享受者の観点から、DTx がもたらす価値を「医療的価値」と「社会的価値」の2つに大別した（図1）。さらに、「医療的価値」には、有効性や安全性による「治療的価値」と、治療過程を構造的・プロセス的に最適化し、治療効果の向上または治療機会と自己管理能力の拡大に寄与する「支援的価値」があることを述べた。「支援的価値」は、ドイツDiGA（ドイツ語でデジタルヘルスアプリの意）に求められる臨床効果（ポジティブケア効果）の1つである「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に関わる要素によりもたらされる価値である。「患者に関

連する構造及びプロセスの改善」に関わる要素としては、①治療手順の調整、②ガイドラインや認知された治療基準との整合、③アドヒアランス、④治療へのアクセス促進、⑤患者の安全性、⑥ヘルスリテラシー、⑦患者の自立性、⑧日常生活における疾患関連の困難への対処、⑨患者・親族の治療関連の労力と負担軽減の9つがあげられる。

診療報酬制度等において、これらの価値が評価されるためには、適切なアウトカム測定ツールを用い、その価値を定量的に示すことが一つのアプローチとなろう。しかしながら、DTx特有の価値とも言える「支援的価値」については、有効性等を検証する「治療的価値」に比べ、現状の事例が限定的であり、どのようなアウトカム測定ツールを用いた検証を行うかのイメージが難しいのでは

図1 筆者が考える「DTx がもたらす価値」の全体像



出典：医薬産業政策研究所、「デジタルセラピューティクス（DTx）がもたらす価値を考える」、政策研ニュースNo.69（2023年7月）¹⁾

1) 医薬産業政策研究所、「デジタルセラピューティクス（DTx）がもたらす価値を考える」、政策研ニュース No.69（2023年7月）、筆者は、「患者が直接的に感じる価値」を「医療的価値」、「患者の周囲に波及する価値」を「社会的価値」と整理した。なお、「支援的価値」のさらなる詳細な情報については、こちらのニュースを参照されたい。

ないだろうか。そこで本稿では、「支援的価値」の定量化方法を検討する一助として、ドイツの「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に対して利用実績のあったアウトカム測定ツールに着目し、デジタル技術を用いた臨床試験での活用状況を調査した。なお、アウトカム測定ツールが確立された定量化可能な価値のみを DTx の価値として捉えるのではなく、英国 NICE による医療技術評価において、患者団体や医療専門家等の広範な声を考慮しているように、定量化できない価値(定性的な価値)についても考慮できる仕組みを併せて検討していくことが重要であろう²⁾。

2. 調査対象

2023年5月24日時点でドイツのDiGA Directoryに登録(本登録または仮登録、登録削除品は除く)されている47製品に対し、「患者に関連する構造及びプロセスの改善」の検証において利用実績のあったアウトカム測定ツールを調査対象とした³⁾(表1)。前述の9つの価値要素のうち、現状の登録品においては、ガイドラインや認知された治療基準との整合: 1 製品、ヘルスリテラシー: 2 製品、患者の自立性: 3 製品、日常生活における疾患関連の困難への対処: 2 製品、患者・親族の治療関連の労力と負担軽減: 1 製品の事例があった。

表1 ドイツ:「患者に関連する構造及びプロセスの改善」の検証において認められたアウトカム及び測定ツール

価値要素	検証された製品数 (47製品中)	名称	適応疾患	アウトカム	アウトカム測定ツール
①治療手順の調整	—	—	—	—	—
②ガイドラインや認知された治療基準との整合	1 製品	ProHerz	心不全	心不全患者のセルフケア行動(生命維持、健康的な機能、幸福感を得るための行動)の程度	European Heart Failure Self-Care Behaviour Scale
③アドヒアランス	—	—	—	—	—
④治療へのアクセス促進	—	—	—	—	—
⑤患者の安全性	—	—	—	—	—
⑥ヘルスリテラシー	2 製品	edupression.com	うつ病	うつ病を認識し、治療について十分な情報に基づいた決定を下す能力	Depression Literacy scale
		Cara Care for irritable bowel syndrome	過敏性腸症候群	ヘルスケア、疾病予防、健康増進における情報のアクセス、理解、評価、適用する能力	European Health Literacy Survey Questionnaire
⑦患者の自立性	3 製品	Mindable	広場恐怖症、パニック障害	抑うつ症状や不安症状に関連するコントロールの知覚	Anxiety Control Questionnaire
		vorvida	アルコール依存症	ある状況下での(誘惑に対する)飲酒を避ける能力についての個人の自信	Alcohol Abstinence Self-Efficacy Questionnaire
		Kranus Edera	器質的原因によるインボテンス	自身の健康とウェルネスの管理に対する知識、スキル、自信	Patient Activation Measure
⑧日常生活における疾患関連の困難への対処	2 製品	My Tinnitus App	耳鳴り	治療に伴う気分や行動(リラックス/緊張、気分、自尊心、社会的相互作用、意味、行動能力)の変化	Bochum Change Questionnaire-2000
		Cara Care for irritable bowel syndrome	過敏性腸症候群	仕事の生産性及び日常生活への障害(欠勤/休業(アブセンティーズム)、労働生産性の低下(プレゼンティーズム)、日常生活(家事、学業、買い物、育児等)の障害等)	Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire (WPAI:IBS)
⑨患者・親族の治療関連の労力と負担軽減	1 製品	velibra	広場恐怖症等	心理的問題を抱える人々の一般的な心理苦痛の度合い	Brief Symptom Inventory

注:「—」は該当する製品・情報がなかったことを示す。

なお、「日常生活における疾患関連の困難への対処」で認められた「患者の生産性」は、政策研ニュースNo.69「デジタルセラピューティクス(DTx)がもたらす価値を考える」¹⁾において、「社会的価値」に関わるアウトカムと整理している。

出所: DiGA Directory³⁾の情報(2023年5月24日時点)をもとに医薬産業政策研究所で作成

2) 医薬産業政策研究所、「医薬品の社会的価値の多面的評価」、リサーチペーパー・シリーズNo.76(2021年3月)、医薬品においても、「定量化困難」=「評価時の考慮不要」ではなく、アウトカム測定ツール等で捕捉できる医薬品の価値に境界があることを認識しつつ、定性的な評価や考慮を検討していくような土台作りも必要」であることが先行研究で指摘されている。

3) 連邦医薬品医療機器研究所(BfArM)、「DiGA Directory」(2023年5月24日閲覧)、<https://diga.bfarm.de/de/verzeichnis?type=%5B%5D>

3. 調査方法

3-1. 利用した臨床試験データベース

調査には、米国国立医学図書館（U.S. National Library of Medicine）等が提供するClinicalTrials.gov並びにドイツ連邦医薬品医療機器研究所（BfArM）が提供するGerman Clinical Trials Register（DRKS）の2つの臨床試験データベースを用いた（いずれも2023年5月時点のデータ）。臨床試験の検索条件は下記のとおりとし、記載内容からデジタル技術（モバイルアプリケーション等）による介入がある試験を抽出した（2つのデータベースで重複する内容の試験があった場合、登録時期の早い試験のみをカウントした）。なお、本調査は支援的価値に関わる全てのアウトカム測定ツールを具体的に規定した検索ではないため、網羅性に限界があることに留意いただきたい。

3-2. 検索条件

それぞれの臨床試験データベースにおける検索条件は以下のとおりとした。なお、対象疾患領域は、ICD-10（2013年版）の分類に基づく⁴⁾。

〈ClinicalTrials.gov〉

- －Study type：All Studies
- －Intervention/treatment：Behavioral OR Device OR Other
- －Outcome Measure：アウトカム測定ツールの名称（引用符で囲み、厳密な単語順序で検索）
- －First Posted：2013年1月1日以降

〈German Clinical Trials Register〉

- －Study Type：any
- －Outcome：アウトカム測定ツールの名称（各単語をANDでつなぎ検索し、検索結果からOutcomeに当該名称が含まれている試験のみを抽出）

－Date of registration：2013年1月1日以降

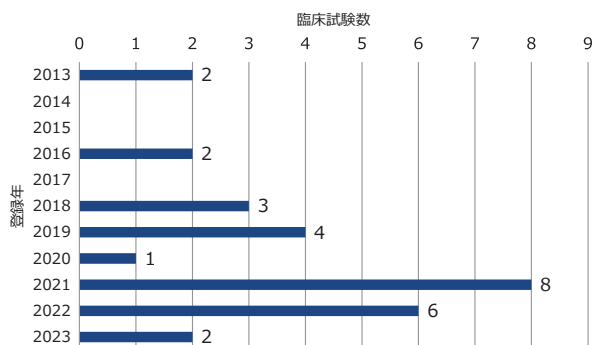
4. 結果

4-1. ガイドラインや認知された治療基準との整合

ガイドラインや認知された治療基準との整合に対しては、「European Heart Failure Self-Care Behaviour Scale（EHFScBS）⁵⁾」（心不全患者のセルフケア行動の程度）をアウトカム測定ツールとして利用した事例があった。

調査の結果、「European Heart Failure Self-Care Behaviour Scale」をアウトカムに含む試験は28件と多くはなかったが、2021年以降、やや増加傾向にあった⁶⁾（図2、いずれも対象疾患は心不全）。また、測定項目の位置づけとして、主要評価項目（Primary outcome）に設定した臨床試験が12件、副次的評価項目（Secondary outcome）に設定した臨床試験が13件あり、ほぼ同数であった。（その他の評価項目（Other outcome）に設定した臨床試験も3件あった。）

図2 European Heart Failure Self-Care Behaviour Scale（ガイドラインや認知された治療基準との整合に関連するアウトカム）を含む臨床試験数の推移



出所：ClinicalTrials.gov 及び German Clinical Trials Register の情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

4) 厚生労働省、「疾病、傷害及び死因の統計分類」、<https://www.mhlw.go.jp/toukei/sippe/>

5) T Jaarsma, et. al, Development and testing of the European Heart Failure Self-Care Behaviour Scale, Eur J Heart Fail. 2003 Jun;5 (3):363-70、EHFScBS は心不全患者のセルフケア行動（毎日の体重測定、水分制限、運動、医療従事者への連絡等）に関する12項目または9項目の自記式質問票であり、5段階のリッカート尺度（完全に同意～まったく同意しない）で評価される。（今回の事例では9項目の質問票が使用された。）

6) 検索語句は「European Heart Failure Self-care Behaviour Scale」

4-2. ヘルスリテラシー

ヘルスリテラシーに対しては、「Depression Literacy scale^{7,8)}」(うつ病を認識し、治療について十分な情報に基づいた決定を下す能力)及び「European Health Literacy Survey Questionnaire (HLS-EU-Q)⁹⁾」(ヘルスケア、疾病予防、健康増進における情報のアクセス、理解、評価、適用する能力)をアウトカム測定ツールとして利用した事例があった¹⁰⁾。

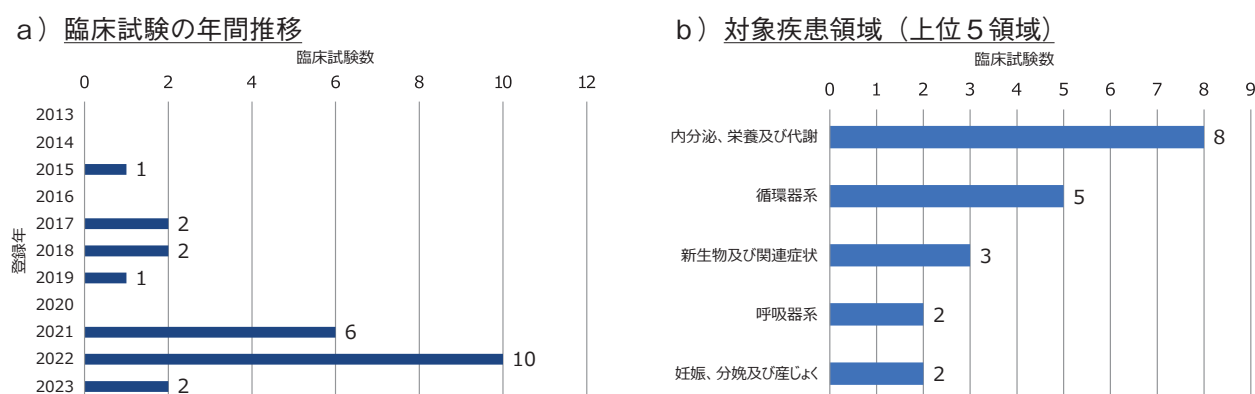
調査の結果、「Depression Literacy scale」をアウトカムに含む試験は4件(2021年:2件、2022年:2件)のみとわずかであった¹¹⁾。また、「European Health Literacy Survey Questionnaire」をアウトカムに含む臨床試験も24件と多くはなかったが、2021年以降、年間試験数はやや増加傾向に

あった¹²⁾(図3)。また、測定項目の位置づけとしてSecondary outcomeに設定された試験が多かった(24試験中17試験)。対象疾患領域をみると、内分泌、栄養及び代謝や循環器、新生物での利用が多く、糖尿病や肥満、心疾患(リハビリテーション含む)、がん等、治療が比較的長期にわたる疾患や生命への影響度が高い疾患において、ヘルスリテラシーの向上が検証されていた。なお、年次別の対象疾患領域数では、顕著な傾向は認められなかった。

4-3. 患者の自立性

患者の自立性に対しては、「Anxiety Control Questionnaire (ACQ)¹³⁾」(抑うつ症状や不安症状に関連するコントロールの知覚)、「Alcohol Ab-

図3 European Health Literacy Survey Questionnaire (ヘルスリテラシーに関連するアウトカム)を含む臨床試験



注: 対象疾患領域の数は上位5領域のみ示した。なお、1試験で複数の疾患領域を含む場合、含まれる全ての疾患領域で臨床試験数をカウントした。

出所: ClinicalTrials.gov 及び German Clinical Trials Register の情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

- 7) Kathleen M Griffiths, et.al, Effect of web-based depression literacy and cognitive-behavioural therapy interventions on stigmatising attitudes to depression: randomised controlled trial, Br J Psychiatry. 2004 Oct;185:342-9.
- 8) The Australian National University, Depression Literacy Questionnaire (D-Lit) (2023年6月5日閲覧)、D-Litは、うつ病に対する情報の真偽を問う22の項目から構成されている。各項目について、「正しい(true)」、「正しくない(false)」、「分からない(don't know)」の3つの選択肢から1つを選び、1つの正解につき、1点が加算される。得点が高いほど、うつ病のヘルスリテラシーが高いことを示す。 <https://nceph.anu.edu.au/research/tools-resources/depression-literacy-questionnaire-d-lit>
- 9) Kristine Sørensen, et.al, Health literacy in Europe: comparative results of the European health literacy survey (HLS-EU), Eur J Public Health. 2015 Dec; 25 (6): 1053-1058、HLS-EU-Qはヘルスケア、疾病予防、健康増進の3領域における情報のアクセス、理解、評価、適用の能力に対する難易度を4段階のリッカート尺度(very easy、easy、difficult、very difficult)で評価するものである。
- 10) HLS-EU-Qは質問項目数により、HLS-EU-Q47やQ16、Q12等があるが、今回の事例ではHLS-EU-Q16が使用された。
- 11) 検索語句は「Depression Literacy scale」、「D-Lit」
- 12) 検索語句は「European Health Literacy Survey Questionnaire」、「HLS-EU-Q16」、「HLS-EU」
- 13) 竹林由武ら、Anxiety Control Questionnaire 日本語版の開発、行動療法研究、39 (3)、145-154、2013、ACQは不安を引き起こす状況を自らコントロールするための個人の知覚能力を測定するもので、30項目の質問に対する6段階のリッカート尺度(まったく同意しない~強く同意する)の合計スコアから評価される。高スコアほど優れたコントロールが認識されていることを示す。

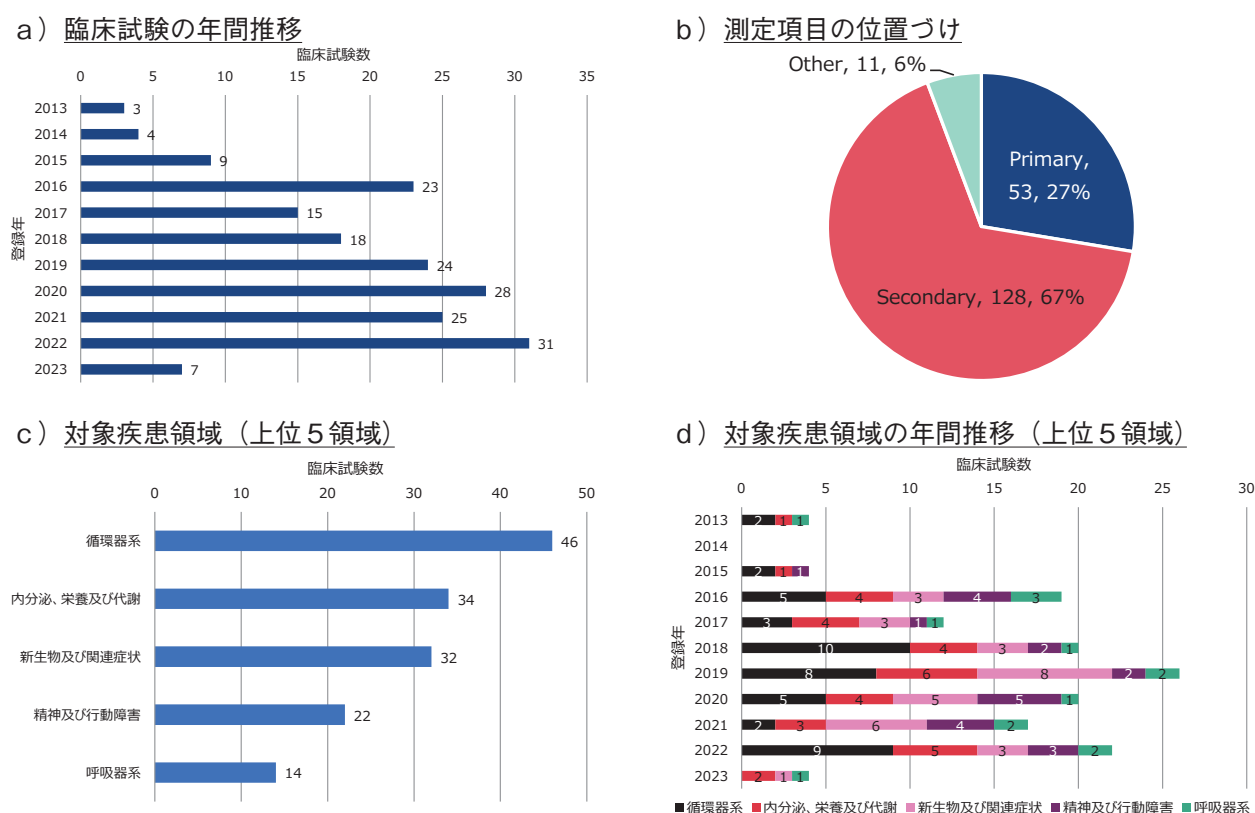
stinence Self-Efficacy Questionnaire (AASE)^{14,15)} (ある状況下での飲酒を避ける能力についての個人の自信)及び「Patient Activation Measure (PAM)^{16,17)} (自身の健康とウェルネスの管理に対する知識、スキル、自信)の3種類のアウトカム測定ツールが利用事例として認められた。

調査の結果、「Anxiety Control Questionnaire」をアウトカムに含む臨床試験は6件¹⁸⁾、「Alcohol Abstinence Self-Efficacy Questionnaire」をアウト

カムに含む臨床試験は18件であり¹⁹⁾、利用は限定的であった。

一方、「Patient Activation Measure」をアウトカムに含む臨床試験は187件あり、経時的な増加傾向がみられた²⁰⁾(図4)。また、約7割がSecondary outcomeに設定された臨床試験であった。対象疾患領域は、ヘルスリテラシーと同様、循環器、内分泌、栄養及び代謝、新生物が多く、高血圧、糖尿病、肥満等の慢性疾患の治療促進や心疾患、脳

図4 Patient Activation Measure (患者の自立性に関するアウトカム) を含む臨床試験



注：測定項目の位置づけについて、1つの試験でPrimary及びSecondaryのいずれにも設定される場合、個別にカウントした。対象疾患領域の数は上位5領域のみ示した。なお、1試験で複数の疾患領域を含む場合、含まれる全ての疾患領域で臨床試験数をカウントした。

出所：ClinicalTrials.gov及びGerman Clinical Trials Registerの情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

- 14) C C DiClemente, et.al, The Alcohol Abstinence Self-Efficacy scale, J Stud Alcohol. 1994 Mar;55 (2):141-8
- 15) UNIVERSITY of WISCONSIN-MADISON、「Alcohol Abstinence Self-Efficacy Scale (AASE)」(2023年6月5日閲覧)、AASEは飲酒を避ける能力についての個人の自信を測定する20または40項目のアンケートであり、5段階のリッカート尺度(まったく自信がない～非常に自信がある)で評価される。<https://arc.psych.wisc.edu/self-report/alcohol-abstinence-self-efficacy-scale-aase/>
- 16) Judith H Hibbard, et.al, Development and testing of a short form of the patient activation measure, Health Serv Res. 2005 Dec;40 (6 Pt 1):1918-30.
- 17) Insignia Health 社、「Patient Activation Measure® (PAM®)」(2023年6月5日閲覧)、PAMは患者の自己管理に対する知識、スキル、自信を評価する10または13項目のアンケート(開発当初は22項目)である。0から100のスケールで生成した患者のPAMスコアから、患者の活性化度に応じて4つのレベルに分類する。<https://www.insigniahealth.com/pam/>
- 18) 検索語句は「Anxiety Control Questionnaire」
- 19) 検索語句は「Alcohol Abstinence Self-Efficacy Questionnaire」、「Alcohol Abstinence Self-Efficacy scale」
- 20) 検索語句は「Patient Activation Measure」

卒中、がん等に対する患者の自己管理の強化、重症化・再発の予防等を目的に、自己効力感の向上を検証する試験が目立った。なお、年次別の対象疾患領域数において、顕著な傾向は認められなかった。

4-4. 日常生活における疾患関連の困難への対処

日常生活における疾患関連の困難への対処に対しては、「Bochum Change Questionnaire-2000²¹⁾」(治療に伴う気分や行動の変化)及び「Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire (WPAI)^{22, 23)}」(仕事の生産性及び日常生活への障害)をアウトカム測定ツールとして用いた事例

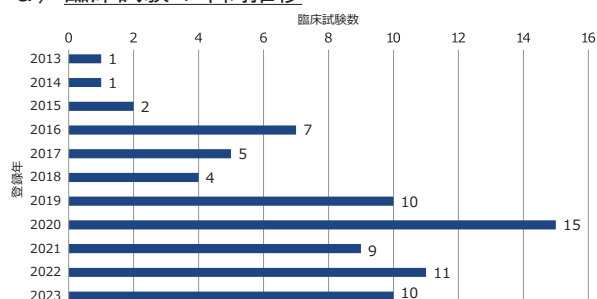
が認められた。なお、政策研ニュース No.69「デジタルセラピューティクス (DTx) がもたらす価値を考える」¹⁾において、患者の生産性向上は「社会的価値」の一つとして整理していることに留意いただきたい。

調査の結果、「Bochum Change Questionnaire-2000」をアウトカムに含む臨床試験は2件とわずかであった²⁴⁾。

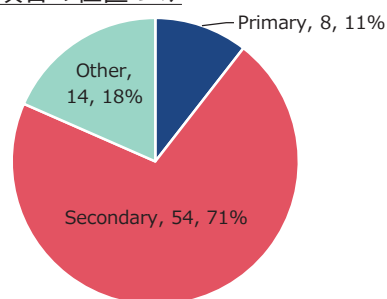
一方、「Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire」をアウトカムに含む臨床試験は75件あり、直近5年でやや増加傾向にあった²⁵⁾(図5)。また、測定項目の位置づけとして、

図5 Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire
(日常生活における疾患関連の困難への対処に関連するアウトカム)を含む臨床試験

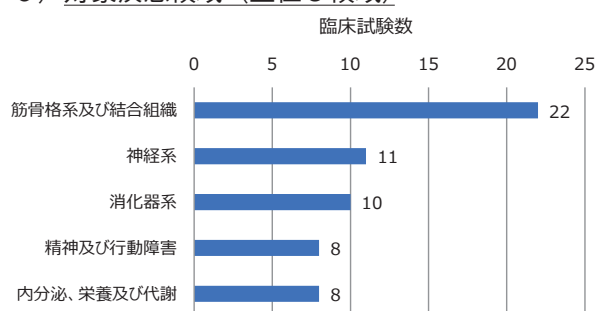
a) 臨床試験の年間推移



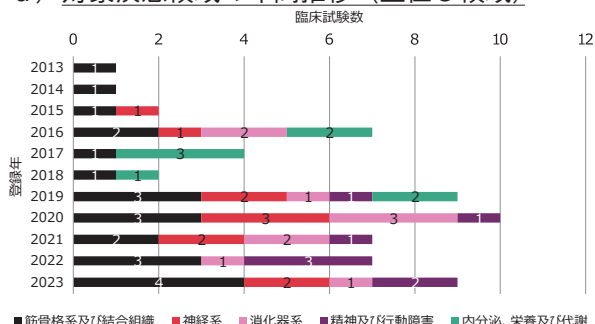
b) 測定項目の位置づけ



c) 対象疾患領域 (上位5領域)



d) 対象疾患領域の年間推移 (上位5領域)



注：測定項目の位置づけについて、1つの試験でPrimary及びSecondaryのいずれにも設定される場合、個別にカウントした。対象疾患領域の数は上位5領域のみ示した。なお、1試験で複数の疾患領域を含む場合、含まれる全ての疾患領域で臨床試験数をカウントした。

出所：ClinicalTrials.gov 及び German Clinical Trials Register の情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

- 21) Nektaria Tagalidou, et.al, The effects of three positive psychology interventions using online diaries: A randomized-placebo controlled trial, Internet Interv. 2019 Sep; 17: 100242, Bochum Change Questionnaire-2000は心理療法における主観的に知覚された変化を測定する26項目のアンケートで、7段階のリッカート尺度（より不安になった～より安心した）で評価される。
- 22) 武藤孝司、プレゼンティーズム ―これまでの研究と今後の課題―、産業医学レビュー、2020年33巻（2020-2021）1号、25-57、WPAIは、欠勤／休業（アブセンティーズム）や労働生産性の低下（プレゼンティーズム）、日常生活（家事、学業、買い物、育児等）の障害等を測る代表的なツールであり、医薬品の開発においても利用されている。
- 23) 今回の事例では、過敏性腸症候群に特化した「WPAI：IBS」が用いられていた。
- 24) 検索語句は「Bochum Change Questionnaire-2000」
- 25) 検索語句は「Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire」、「WPAI」

約7割がSecondary outcomeに設定された臨床試験であった。対象疾患領域別にみると、筋骨格系及び結合組織、神経、消化器等が多く、種々の関節炎や体の痛み（首痛、腰痛等）、不眠、過敏性腸症候群、炎症性腸疾患等、慢性の痛みや持続する自覚症状が強い疾患でWPAIが利用される傾向がみられた。加えて、年次別の対象疾患領域数を見ると、上記の疾患領域に加え、近年、うつ病等の精神及び行動の障害を対象とした試験での利用も認められた。WPAIの種類としては、様々な疾患で汎用されるWPAI-GH（General Health）の利用が多かったが、WPAI-MS（多発性硬化症）やWPAI-UC（潰瘍性大腸炎）、WPAI-asthma（喘

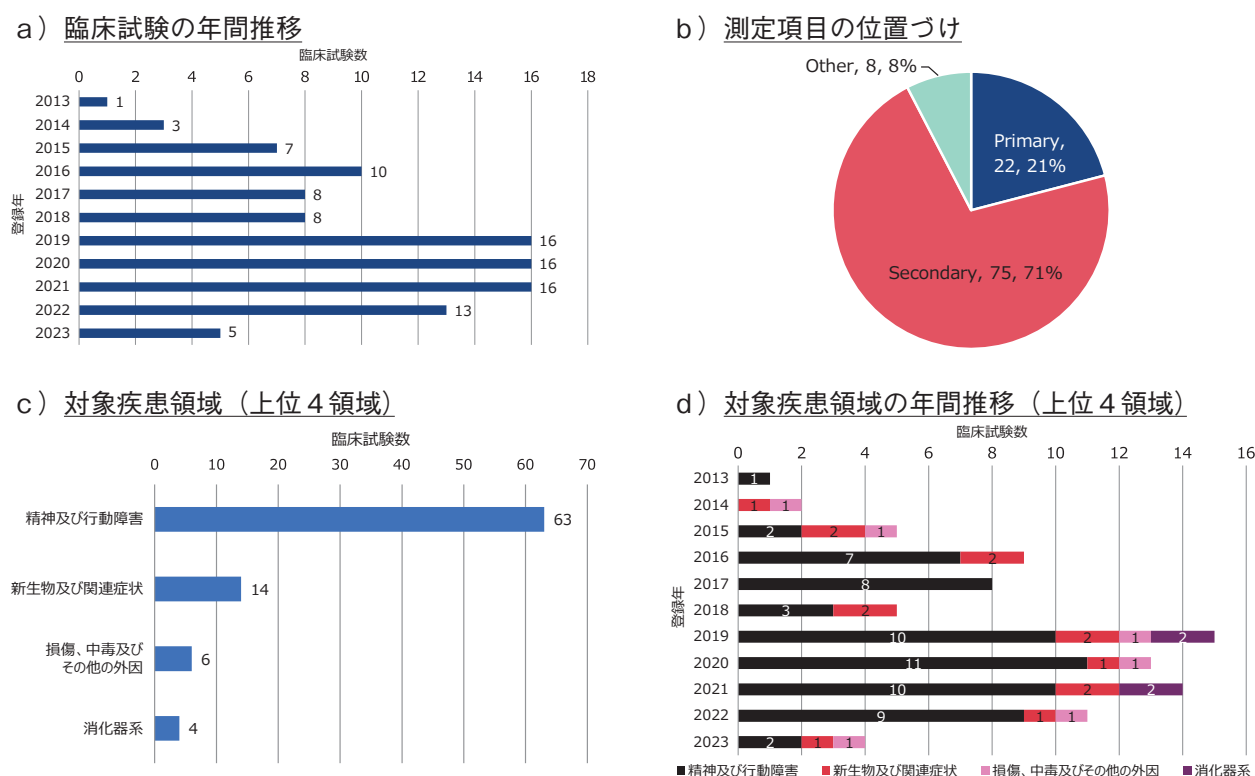
息）等、特定の疾患に対して最適化されたツールも利用されていた。

4-5. 患者・親族の治療関連の労力と負担軽減

患者・親族の治療関連の労力と負担軽減に対しては、「Brief Symptom Inventory（BSI）²⁶⁾」（心理的問題を抱える人々の一般的な心理苦痛の度合い）をアウトカム測定ツールとして用いた事例があった。

「Brief Symptom Inventory」をアウトカムに含む臨床試験は103件あり、直近5年でやや増加傾向にあった²⁷⁾（図6）。また、他のアウトカム測定ツールと同様、約7割がSecondary outcomeに設定さ

図6 Brief Symptom Inventory（患者・親族の治療関連の労力と負担軽減に関連するアウトカム）を含む臨床試験



注：測定項目の位置づけについて、1つの試験でPrimary及びSecondaryのいずれにも設定される場合、個別にカウントした。対象疾患領域の数は上位4領域のみ示した。なお、1試験で複数の疾患領域を含む場合、含まれる全ての疾患領域で臨床試験数をカウントした。

出所：ClinicalTrials.gov及びGerman Clinical Trials Registerの情報をもとに医薬産業政策研究所で作成

26) Suzana Drobnjak, Brief Symptom Inventory, Encyclopedia of Behavioral Medicine pp 269-270、BSIは心理的苦痛や症状に関する53項目の質問票で、9つの主要な症状側面（身体化（心理的ストレスに反応し現れる身体症状）、強迫観念、対人過敏性、抑うつ、不安、敵意、恐怖性不安、妄想的観念、精神異常）に対し、過去7日間の心理的苦痛のレベル、症状の強さ、自己申告された症状の数を3つのグローバル苦痛指数（グローバル重症度指数、陽性症状苦痛指数、陽性症状の合計）により評価するものである。

27) 検索語句は「Brief Symptom Inventory」

れた臨床試験であった。Brief Symptom Inventoryは心理的苦痛に対する尺度であるため、対象疾患領域の多くが精神及び行動の障害であったが、がんや脳損傷、炎症性腸疾患等に伴う心理的苦痛の度合いを測る指標として活用される試験も認められた。なお、年次別の対象疾患領域数に顕著な傾向はなかった。

5. アウトカム測定ツールの開発

今回の調査対象となったアウトカム測定ツールは、DTxに特化し、開発されたものではない。

例えば、「European Health Literacy Survey Questionnaire (HLS-EU-Q)」は、欧州における国民のヘルスリテラシー調査を目的に、EU加盟8か国（オーストリア、ブルガリア、ドイツ、ギリシャ、アイルランド、オランダ、ポーランド、スペイン）からなるコンソーシアムが立ち上げた欧州ヘルスリテラシープロジェクト（HLS-EU）において開発された測定ツールである⁹⁾。現在、HLS-EU-Qは欧州以外の世界各国で翻訳・利用されており、わが国においても日本語版の信頼性と妥当性の検証が行われている²⁸⁾。

また、患者の自己管理能力等を測る「Patient Activation Measure」は15年以上前にオレゴン大学のJudith Hibbard博士らにより開発された測定ツールであり、既に800以上の査読済み研究において利用されている^{16, 29)}。

「Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire (WPAI)」はReilly博士らにより開発された仕事や日常活動の生産性への影響を測定するツールであり、以前から医薬品の開発におい

て利用されている^{2, 22)}。また、4項で述べたとおり、WPAIでは特定の疾患を対象とした様々な測定ツールの開発が進んでいる。現状、10を超える疾患特異的なWPAIが開発されており²²⁾、国際頭痛学会では慢性片頭痛に対する薬剤経済的エンドポイントとして、片頭痛に特化したWPAIの利用を提案している³⁰⁾。これらの指標の開発には、アカデミアのみならず、製薬企業や医療機関（研究センター）等の幅広い研究者が関与している^{31, 32, 33)}。

以上のように、アウトカム測定ツールの開発には様々なメンバーが関与し、時には国や立場の違いを超え協力している。現状、DTxに特化したアウトカム測定ツールの必要性は低いかもしれないが、今後、技術の進化等に伴い、DTxの特性を踏まえた新たなアウトカム測定ツールの開発が必要となる場面も出てくるであろう。一方で、DTx開発者の多くはスタートアップであり、そのような企業が自社の臨床試験に向け、単独で新たなアウトカム測定ツールの開発や海外の測定ツールの翻訳版の検証を行うことは、リソースや金銭的な負担を考えるとあまり現実的ではないと言える。本邦におけるDTx開発を促進していくためには、産官学が連携したアウトカム測定ツールの開発の推進等が重要となるのではないだろうか。

6. まとめ

本稿では、「支援的価値」の定量化方法を検討する一助として、ドイツの「患者に関連する構造及びプロセスの改善」に対して利用実績のあったアウトカム測定ツールに着目し、デジタル技術が関与す

28) Kazuhiro Nakayama, et.al, Comprehensive health literacy in Japan is lower than in Europe: a validated Japanese-language assessment of health literacy, BMC Public Health. 2015; 15: 505.

29) Phreesia 社、「Patient Activation Measure® (PAM®)」(2023年6月5日閲覧)、<https://www.phreesia.com/patient-activation-measure/>

30) Cristina Tassorelli, et.al, Guidelines of the International Headache Society for controlled trials of preventive treatment of chronic migraine in adults, Cephalalgia Volume 38, Issue 5, April 2018, Pages 815-832

31) Peter Wahlqvist, et.al, The Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire for Patients with Gastroesophageal Reflux Disease (WPAI-GERD): responsiveness to change and English language validation, Pharmacoeconomics. 2007;25 (5):385-96.

32) Wei Zhang, et.al, Validity of the work productivity and activity impairment questionnaire-general health version in patients with rheumatoid arthritis, Arthritis Res Ther. 2010;12 (5):R177.

33) D J Lerner, et.al, The migraine work and productivity loss questionnaire: concepts and design, Qual Life Res. 1999 Dec;8 (8):699-710.

る臨床試験での活用状況をまとめた。調査においては、ヘルスリテラシーの指標となる「European Health Literacy Survey Questionnaire」や患者の自立性の指標となる「Patient Activation Measure」、心理的苦痛の指標となる「Brief Symptom Inventory」等のアウトカム測定ツールが認められた。これらの中には、近年、臨床試験での利用が

増加傾向にあるものもいくつかあった。その背景には、デジタル技術を活用した臨床試験数そのものの増加³⁴⁾が影響していると推察するが、DTxの多様な価値が開発者の中で認識され、その検証が広まりつつあるとも言えるのではないだろうか。

DTx 開発者に求められる価値の定量化に対し、本稿の情報が取り組みの一助となることを願う。

34) 医薬産業政策研究所、「デジタルメディスン開発の潮流と製薬産業の関わり ―臨床試験・提携の動向を踏まえて―」、政策研ニュースNo.64 (2021年11月)、筆者は以前、デジタルメディスンの臨床試験数の動向を調査し、近年アプリやVR/AR等の技術を活用した臨床試験が増加していることを報告した。

ゲノム情報を研究利用する際の情報の流れ

医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田法大

個人情報保護のための技術的措置の重要性

第211回国会において改正次世代医療基盤法が可決・成立し、新たに「仮名加工医療情報」の利用が始まる。従来の次世代医療基盤法では、医療情報を匿名加工することにより医薬品の研究開発等に利用することが可能となっていたが、今回新たに、仮名加工を行った医療情報も利用可能となる。仮名加工医療情報とは、他の情報と照合しない限り、個人を特定できないよう加工した情報と定義され、削除やカテゴリ化などの匿名加工が必要となっていた特異な臨床検査値なども研究に利用可能となる¹⁾。また、審査当局による真正性確認のための情報照会が可能となることにより、薬事承認の申請等にも情報を利用できるようになる。仮名加工医療情報の研究利用は、法改正の議論の過程で製薬産業からも要望が出されていたものであり²⁾、製薬産業における医療情報利用を後押しするものとなることが期待される。

一方で、今回の改正が検討された次世代医療基盤法検討ワーキンググループでの議論や国会審議の過程では、仮名加工された医療情報を受領し、管理することとなる認定利用事業者に対して、情報の安全管理措置や、組織内部における利用部門の制限、個人情報の再識別に対する規制の強化等に関する意見が複数挙げられており、仮名加工医

療情報を利用する場合、利用者の情報管理の負担は増加することが見込まれる。個人情報の保護の観点では、最も機微な生体情報であるゲノム情報の研究利用の体制に目を向けると、クラウドやコンテナ型の仮想化技術を利用し、情報の漏洩や不正利用に対するデータガバナンスの強化が進められている³⁾。これらの取り組みは、情報利用者に課される安全管理措置の負担の軽減だけでなく、情報が意図しない目的で利用されるリスクの軽減にもつながり、情報の提供者と利用者双方に有益なものとなっている。情報管理の基盤として、クラウドやコンテナの利用が進む中で、複数の機関が独自で管理している情報を組み合わせて解析を行う際の情報保護に関しても併せて検討が進められている。これらの技術は、本邦におけるバイオバンクや次世代医療基盤法の匿名加工医療情報作成事業者間の連携への応用も期待される。

情報の提供者が信頼して情報を提供できる環境を醸成するためには、漏洩や不正利用の抑止力となる規制の強化だけでなく、それらを事前に予防するための技術的措置も重要となる。ゲノム情報で検討されている研究利用における体制は、ゲノム情報だけでなく、他の医療情報においても応用可能な事例が多い。本邦の医療情報連携システム

の整備に有益な示唆を与える先行事例として、本

- 1) 内閣府、医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報に関する法律の一部を改正する法律案の概要、https://www.cao.go.jp/houan/pdf/211/211_3gaiyou.pdf
- 2) 健康・医療戦略推進本部、第2回 次世代医療基盤法検討ワーキンググループ 資料3、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryoku/data_rikatsuyou/jisedai_iryokiban_wg/dai2/gjijisidai.html
- 3) 厚生労働省、第15回 厚生科学審議会科学技術部会全ゲノム解析等の推進に関する専門委員会 資料2 参考資料：用語説明、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_33282.html

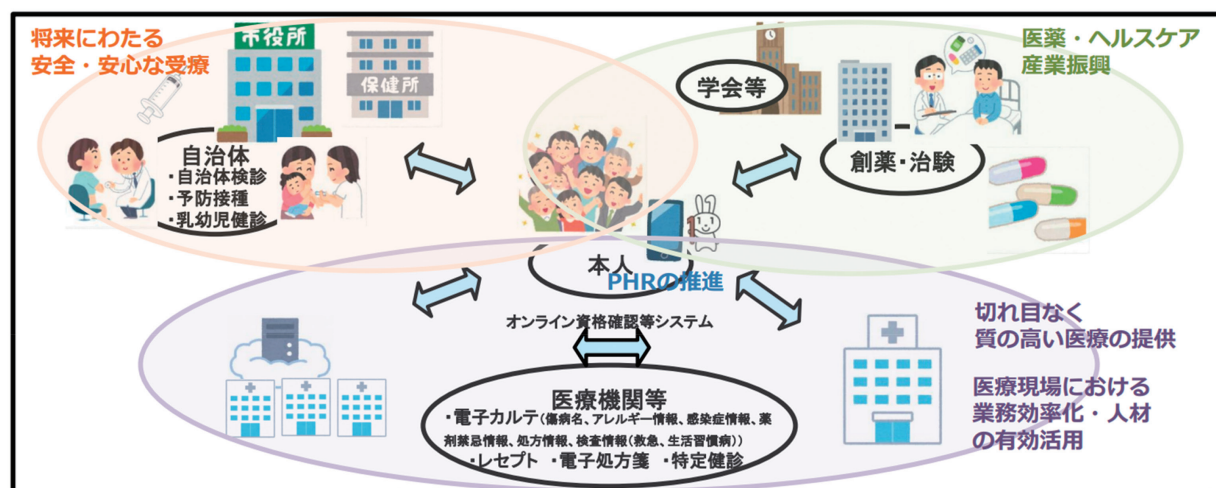
稿では単一機関でのデータのガバナンスに関して、Genomics England の事例を中心に紹介を行い、複数の機関によって管理される情報を組み合わせて利用する事例として、国家間でゲノム情報を利用することにより、ゲノム情報を用いた医療や医学の発展を目指す国際協力組織である GA4GH (Global Alliance for Genomics and Health) によって開発されている研究体制の仕組みを紹介する。

医療情報連携の動向

ゲノム情報に限らず、医療機関やバイオバンク等で管理される医療情報を他の医療機関や製薬企業と共有し、医療や創薬研究の効率化に繋げる動きは活発化してきており、日本製薬工業協会も本年4月に、一般の方に向けた医療情報の利用に関する啓発冊子を公開した⁴⁾。2022年10月に内閣に設置された医療 DX 推進本部においても、保健医療情報を共有することにより、創薬研究だけでなく、情報提供者本人に提供される医療の質向上を

目指すことが、厚生労働省が提出した資料内で示されている⁵⁾ (図1)。他国に目を向けても、新型コロナウイルスの感染拡大も要因となり、欧米を中心に、医療情報の共有が進められているが、2019年時点では医療機関が保有する情報の97%が利用できていないことが世界経済フォーラムから示されており⁶⁾、医療情報の利用による医療の質向上は、日本だけでなく世界中で注力されている課題となっている。医療情報の相互運用性の向上に関しては、主に情報の種別単位 (FHIR – 電子カルテ、DICOM – 医用画像、IHE – システム連携など) で議論が進められてきた。これらの取り組みでは、主に自らの情報を提供した患者本人に対して効率的な医療を提供することを目的として、情報の構造定義や交換規約に関する整備が進んできたが、近年は研究開発などの二次利用への検討も始まっている。ゲノム情報の連携を促進している GA4GH は、二次利用を進める過程で生じる問題を10個に分類しており、それぞれの課題解決に向けて活動を行っている⁷⁾。

図1 医療 DX により実現される社会



出所：内閣官房、第1回医療 DX 推進本部 資料4 医療 DX により実現される社会（厚生労働大臣提出資料）、https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/iryou_dx_suishin/dai1/gijisidai.html

- 4) 日本製薬工業協会、健康医療データと私たちの生活、https://www.jpma.or.jp/news_room/release/news2023/230426_1.html
- 5) 内閣官房、第1回医療 DX 推進本部 資料4、https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/iryou_dx_suishin/dai1/gijisidai.html
- 6) The World Economic Forum, 4 ways data is improving healthcare, <https://www.weforum.org/agenda/2019/12/four-ways-data-is-improving-healthcare>
- 7) Rehm, Heidi L., et al. GA4GH: International policies and standards for data sharing across genomic research and healthcare. *Cell genomics*, 2021, 1.2.

医療情報の二次利用を阻む主な障壁

1. 情報生成プロセスの統一性
2. 相互運用性（データモデル・用語）
3. 情報管理基盤
4. 情報へのアクセス
5. 情報の利用に関する同意取得
6. プライバシー・セキュリティの規制
7. 情報提供者への透明性の確保
8. 他国との情報共有（経験・信頼度）
9. 情報共有・利用に対するインセンティブ
10. データの共有義務

本稿で紹介する個人情報保護のための技術的な措置は、主に「情報管理基盤」、「プライバシー・セキュリティの規制」の課題に対して有効な手段となる。情報管理に関する議論は、運用標準の統一とともに、医療情報の連携を阻む大きな障壁として存在する。英国では既に2013年から、医療機関が保有する情報を中央に設置したデータベースに集約を行い、医療情報の二次利用を行う Care.dataプロジェクトを行っていたが、個人情報保護の手続きが適切に実施されていないという理由で国民からの賛同が得られず、プロジェクトが廃止となった⁸⁾。近年では、当時と比較して医療情報の利用には一定の理解は進んでいるものの、昨年公表された米国医師会の調査においても、医療情報の二次利用に対する情報提供者の懸念は未だに大きいという結果が示されている⁹⁾。情報の利用を円滑に進めるためには、情報提供者の心理的な不安を軽減し、信頼を得るための仕組みの構築が必要であり、個人情報を技術的に保護する方法としてプライバシーテックが注目されている。

情報利用と保護の両立

はじめに、情報利用の体制整備から情報利用と個人情報保護との両立を目指している事例として英国の Genomics England（全ゲノムシーケンスを行う疾患コホート）における解析環境を紹介する。機微な情報を効率的に研究に利用していくためのフレームワークとして、Five Safes frameworkという考え方が存在する¹⁰⁾。英国の統計局が提案している考え方で、情報の利用時に考慮すべき要素を5つに分類している。英国の国民保健サービスである NHS（National Health Service）を中心に健康保険分野の情報を利用した研究においても考慮されている。

Five Safes framework

1. Safe People（適切な利用手続き）
2. Safe Projects（適切な利用目的）
3. Safe Settings（不正利用の制限）
4. Safe Outputs（解析結果の管理）
5. Safe Data（情報の管理）

英国では、機微な情報を安全かつ確実な方法で研究利用するための環境を TRE（Trusted Research Environment）と呼び、機微な情報のプライバシーとセキュリティを保護しながら解析が実行できる環境の構築を目指している。TRE では Five Safes のフレームワークを中心として個人情報保護の設計がなされており、NHSや保健省が関与する Genomics Englandや OpenSAFELY（NHS 患者記録の解析基盤）においても利用されている。

Genomics England では、解析を実施する利用者にクラウド内に用意された TRE を提供しており、利用者は基本的にこの環境を利用して情報を扱うことになる¹¹⁾。Genomics Englandでは、上記

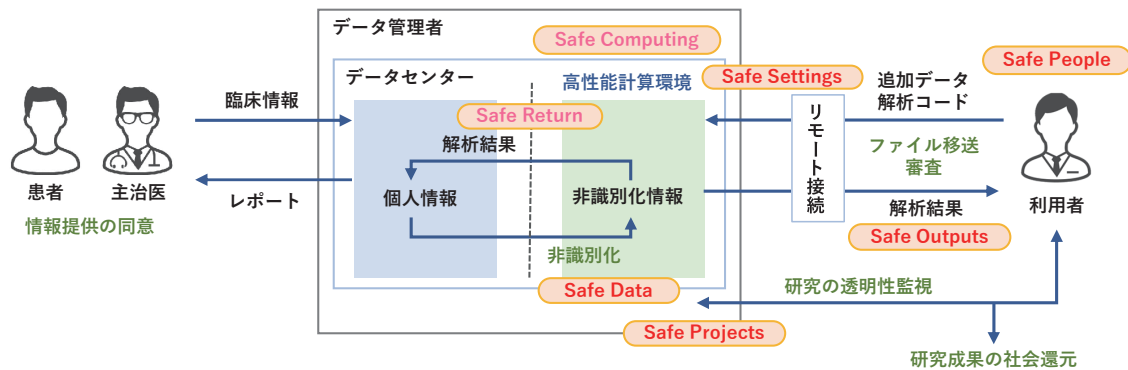
8) Limb, Matthew. Controversial database of medical records is scrapped over security concerns. *BMJ: British Medical Journal*, 2016, 354.

9) American Medical Association, Patient survey shows unresolved tension over health data privacy, <https://www.ama-assn.org/press-center/press-releases/patient-survey-shows-unresolved-tension-over-health-data-privacy>

10) Ritchie, Felix. Secure access to confidential microdata: four years of the Virtual Microdata Laboratory. *Economic & Labour Market Review*, 2008, 2: 29-34.

11) UK Health Data Research Alliance, Building Trusted Research Environments - Principles and Best Practices; Towards TRE ecosystems, 2021

図2 Genomics England で利用される TRE



出所：UK Health Data Research Alliance, Building Trusted Research Environments - Principles and Best Practices; Towards TRE ecosystems, 2021

の Five Safes に加えて、2つの研究特異的な追加項目を含めて、7つの要素を意識した情報の管理がなされている。図2にTREの概要とFive Safesのフレームワークの適応が想定されるプロセスを示す。TREには、承認された利用者(Safe People)が、仮想デスクトップを介してのみアクセス可能となっており(Safe Settings)、利用者がアクセス可能な情報は非識別化された情報のみとなっている(Safe Data)。研究の内容は情報の管理者又は第三者によるレビューを受けることにより妥当性・透明性が確保される(Safe Projects)。TREから外部へは解析結果のみが持ち出し可能となつ

ており、内容が確認されたのちに移送が可能となる(Safe Outputs)。Genomics Englandでは、他のプロジェクトと異なる特徴として、大規模情報を利用するためのパブリッククラウドの利用と、結果の一部をレポートとして主治医を介して情報提供者に提供しており、それぞれの過程においても個人情報の保護に関する考慮がなされている(Safe Computing、Safe Return)。英国の国立研究所の関連組織から Five Safes の各項目のベストプラクティスが公表されており、その中で重要と考えられる特徴を抜粋して表1に示す。

上記のような TRE を利用することは、単一の

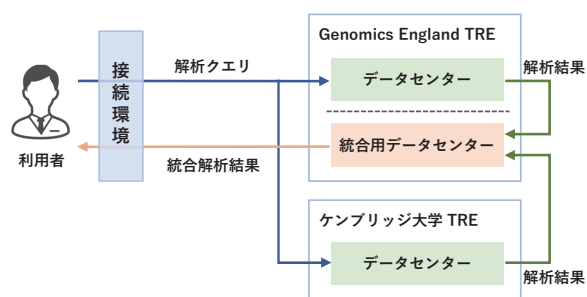
表1 Five Safes のベストプラクティス

	Best Practice (抜粋)
Safe People	・データ管理者は利用者の所属や身分を確認し、TRE へのアクセス権を発行する。 ・データ管理者は情報へのアクセスに関する署名入りの誓約書(研究倫理・利益相反等)を保管する。 ・システム管理者は各利用者の情報へのアクセス履歴を管理する。
Safe Projects	・データ管理者は利用者にプロジェクトの詳細な説明(研究内容・資金提供者・期間等)を求める。 ・データ管理者はデータアクセスの認可までの過程(期間・要件・意思決定プロセス)を示す。 ・データ管理者のデータアクセス認可の意思決定には、患者や一般市民などの代表者を含める。
Safe Settings	・システム管理者は個人単位の情報の出力を不可能とするようなシステムを準備する。 ・システム管理者は情報への安全なアクセスを実現可能にし、利用を追跡するシステムを準備する。 ・システム管理者は情報セキュリティの規格への適合性を示し、計画書・報告書のレビューを受ける。
Safe Outputs	・データ管理者は解析結果の移送申請を評価するための基準とプロセスを準備する。 ・システム管理者は TRE から外部への無許可の情報移送を防ぐシステムを準備する。 ・システム管理者は論文等の査読者が要求した際に、情報へのアクセスを可能とするプロセスを準備する。
Safe Data	・データ管理者は一般的な形式で標準化されたデータとそれらのメタデータを利用者に提供する。 ・データ管理者はすべてのデータから直接識別子が削除されていることを確認する。 ・データ管理者は利用者が TRE 内部での利用を求める外部情報を移送するプロセスを準備する。
Safe Computing	・システム管理者はクラウドのセキュリティに関する計画書・報告書のレビューを受ける。 ・パブリッククラウド等を利用する場合、システム管理者はハードウェア又はソフトウェアを管理する第三者が個人単位の情報へアクセスすることを防ぐ。
Safe Return	・システム管理者は解析結果の個人への通達に関する同意と同意撤回を追跡するプロセスを導入し、同意している人へのみ適切に通達可能となるプロセスを準備する。 ・システム管理者は非識別化されたデータの追跡性が保証されており、通達先が正しいことを確認する。

出所：UK Health Data Research Alliance, Building Trusted Research Environments - Principles and Best Practices; Towards TRE ecosystems, 2021

機関の中で解析を実施する際にはとても有効となるが、TRE外部への情報の持ち出しが厳格に制限されるため、解析結果の精度向上や検証を目的として、複数の機関で管理される情報を組み合わせた解析を実施することが困難となる。情報を医療機関の外部や、国外に持ち出すことが出来ない状況は、Genomics Englandに限らず、医療情報を解析するには常に大きな制約となる。Genomics Englandでは、このような課題を解決するための実証研究として、ケンブリッジ大学の研究センターが保有する情報と組み合わせて解析を行うための体制を整備している¹²⁾。各機関から情報を持ち出さずに解析を行う方法は、Federated Approachと呼ばれており、解析クエリを各機関に共有し、各機関で実行した結果を集約することで統合した結果を得ることが可能となる(図3)。このプロジェクトでは時間的な制約により、統合用のデータセンターを、Genomics EnglandのTREに設置したが、本来は独立した環境に置くことが望ましいことが報告書の中で述べられている。以上のように、英国では、データの標準化が進むゲノムの分野を中心に、新たな情報利用の体制が採用され始めている。

図3 共同研究で利用された TRE



出所：Data and Analytics Research Environments UK, Multi-party trusted research environment federation: Establishing infrastructure for secure analysis across different clinical-genomic datasets, 2022

情報利用の体制

Genomics England の事例において、クラウド環境や Federated Approach を用いた情報利用の体制を紹介したが、現時点で一般的に広く利用されている医療情報の共有方法は、ファイルサーバー又は電子記録媒体を介して情報自体を複製・配布する方法である。次世代医療基盤法においても、ガイドライン¹³⁾の中で「匿名加工医療情報取扱事業者に対する匿名加工医療情報の提供については、電気通信による方法や可搬記録媒体を用いる方法のほか、オンサイトで閲覧する方法も、想定される。」と記載があり、製薬企業が研究を行う際には、匿名加工医療情報は、製薬企業（匿名加工医療情報取扱事業者）が管理するストレージに保管されることが主な方法として想定されている。一方で、Genomics England の事例で紹介したように、クラウド技術やコンテナ型の仮想化技術の進展により、欧米を中心に情報利用の体制に変革がみられている。ゲノムや健康に関する情報の国際的な連携を促進するために設立された団体である GA4GH が2021年に公表した論文では、3つの情報利用のアプローチが紹介されている¹⁴⁾(図4)。

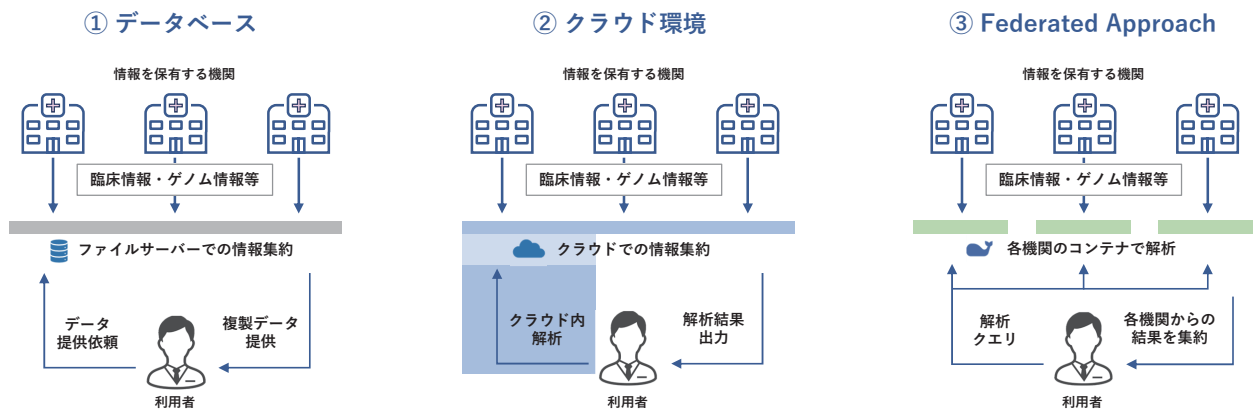
①に示す方法は、中央に設置したファイルサーバーにて、情報を一元化したのちに、集約した情報を利用者の基へ移送する方法である。上述の次世代医療基盤法においても想定されている方法で、認定医療情報等取扱受託事業者が情報の集約を担っている。②に示す方法は、利用者がクラウドに用意された解析環境を通じて、集約された情報にアクセスを行う方法である。解析前の医療情報を製薬企業が管理するストレージに保管しないという点で、上記の次世代医療基盤法ガイドライン中の「オンサイトで閲覧する方法」に類似する方法であり、機微な情報が利用者に渡ることがなく、より個人情報の保護に配慮した方法となる。

12) Data and Analytics Research Environments UK, Multi-party trusted research environment federation: Establishing infrastructure for secure analysis across different clinical-genomic datasets, 2022

13) 内閣府、医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報に関する法律についてのガイドライン、2023

14) Thorogood, Adrian, et al. International federation of genomic medicine databases using GA4GH standards. *Cell genomics*, 2021, 1.2: 100032.

図4 情報連携方法の種類



出所：Thorogood, Adrian, et al. International federation of genomic medicine databases using GA4GH standards. *Cell genomics*, 2021, 1.2: 100032.

③に示す方法は、解析前の医療情報を集約することなく、各機関の中で、利用者から提供された解析クエリを実行し、解析結果のみを集約する方法である。①と②に示す方法では、利用者が解析前の医療情報を閲覧可能な状況になってしまうため、さらに個人情報保護を技術的に強化する方法として、近年注目され始めている。前述したGenomics EnglandのTREは②の方法で構築されており、ケンブリッジ大学との共同プロジェクトは③の方法に該当する。冒頭で紹介した、仮名加工医療情報を利用する際の懸念の多くは匿名加工医療情報を利用する際に採用していた①の方法に起因する懸念点が多く、②や③の方法では、情報の複製が不要となり、仮名加工医療情報の利用事業者が管理するストレージに情報が保存されることはなくなる。情報漏洩の観点だけでなく、情報の即時性や追跡性の観点においても①の方法と比較して優れている。

Genomics Englandの事例や、政策研ニュースNo.68で紹介したCOVID-19の事例からも、②のクラウド環境を利用した方法は欧米を中心に、既に様々な場面で利用が開始されており、本邦の東北

メディカル・メガバンク機構においても遠隔地からの情報へのアクセスが可能となっている¹⁵⁾。③の分散型の情報利用の体制では、同時に全ての機関が管理する情報へアクセスすることが出来ないため、解析結果の精度の向上や、解析実施の体制整備など、現時点では解決すべき課題も多く存在しているが、Genomics Englandの事例のように実証研究が進められており、オランダを中心とするPersonal Health Trainの構想や¹⁶⁾、世界経済フォーラムから利用に向けた提言書が発出されており¹⁷⁾、研究途上であるものの実用化に向けて世界的に注目を集めている段階である。

ゲノム情報連携の動向

新たな情報利用の体制は、ゲノム研究の分野において現在最も実用化が進んでいる。ゲノム情報のデータベースは以前から情報の偏りが指摘されており、特に人種差に関しては、ゲノムワイド関連解析（GWAS: genome-wide association study）に利用されたゲノム情報は、ヨーロッパ系が78%以上を占め、アフリカ系は僅か2.4%程度であると推定されている¹⁸⁾。その結果、疾患の発症リスク

- 15) 健康・医療戦略推進本部、第3回ゲノム医療協議会資料1-3、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryoku/genome/genome_dai3/gijisidai.html
- 16) Beyan, Oya, et al. Distributed analytics on sensitive medical data: the personal health train. *Data Intelligence*, 2020, 2.1-2: 96-107.
- 17) The World Economic Forum, Federated Data Systems: Balancing Innovation and Trust in the Use of Sensitive Data, 2019
- 18) Atutornu, Jerome, et al. Towards equitable and trustworthy genomics research. *EBioMedicine*, 2022, 76: 103879.

等を予測するPRS (Polygenic Risk Score) のアフリカ系における予測精度が、ヨーロッパ系よりも約4.5倍低かったという報告もある¹⁹⁾。このような情報の不均衡は、新薬開発における効果の推定や、副作用リスクの推定にバイアスを生じさせる恐れがある。この問題を解消するためには、多様な民族から由来する情報を利用して解析を行う必要があるが、各国における民族の分布には当然偏りが存在しており、国際的な情報連携が必須となる。しかしながら、ゲノム情報の越境移転に関しては、厳しく制限している国も多く存在し、個人の情報を国外に出すことなく、精度の高い解析結果を得ることに対する需要は極めて高くなっている。ゲノム研究の分野では、前項で紹介した情報利用の体制を実践的に活用するためのプロジェクトも複数存在しており、それらの取り組みの一部を紹介する。

効率的な情報連携を目指すコンソーシアム

本稿では、情報の利用方法に焦点を当てているが、情報の利用を行う以前にも、情報提供者からの同意取得や、データ構造の標準化等の様々な解決すべき問題が存在する。これらの諸問題の解決に向けて活動を行っている組織は、OHDSI²⁰⁾やCDISC²¹⁾、GO FAIR²²⁾をはじめとして複数存在している。本稿では、その中でも本邦の研究機関も多数加盟しており、情報の利用方法の項でも紹介したように、ゲノム情報の連携において影響力の大きい取り組みを行っているGA4GHを紹介する。GA4GHは、前述のとおり、倫理的な配慮の下、国家間でゲノム情報を利用することにより、ゲノム情報を用いた医療や医学の発展を目指す国際協力組織である。56か国、680以上の組織が加盟してお

り、本邦においても、東北メディカル・メガバンク機構や、大規模なゲノム情報の統合利活用プラットフォーム (CANNDs)²³⁾の構築を目指しているAMED (日本医療研究開発機構)等が加盟しており、本邦におけるゲノム情報の利用もGA4GHが提案するスキームを踏襲していくことが予想される。前述した Genomics England とケンブリッジ大学のプロジェクトにおいても、GA4GHによって開発された標準プロセスが採用されている。本邦でも、理化学研究所がGA4GHのプロジェクトとして、オーストラリアのQIMRベルクホフアー医学研究所とゲノム情報自体の授受を行うことなく、双方が保管するゲノム情報を利用してバリエーションの評価を行ったことが発表された²⁴⁾。これは、解析クエリを双方の組織で授受する方法によって実現されており、コンテナ型の仮想化技術を用いる方法 (情報連携の③に示した方法) で実施された。

ゲノム情報の利用事例

本邦においても、AMEDや理化学研究所のような公的な組織が参画しているように、GA4GHで開発された技術や運用方針は各国のゲノムコンソーシアムで採用され始めている。本稿では、情報連携で先進的な取り組みを行っている事例を紹介する。

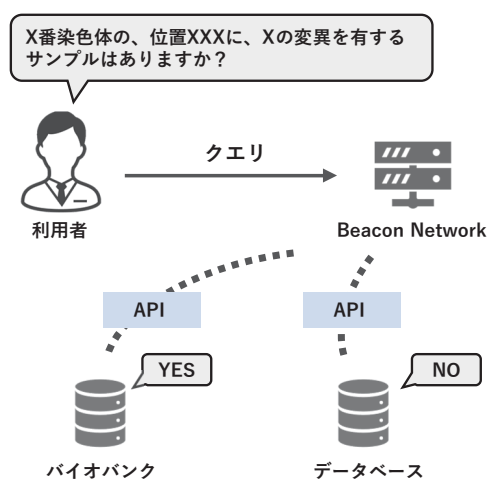
ELIXIR

欧州において生体情報を横断的に利用可能とするための政府間組織であり、欧州の23か国の研究機関が参画している。ELIXIRでは、GA4GHと連携して参加機関が管理するゲノム情報を横断的に検索可能とする Beacon 技術に関するプロジェク

-
- 19) Martin, Alicia R., et al. Clinical use of current polygenic risk scores may exacerbate health disparities. *Nature genetics*, 2019, 51.4: 584-591.
20) Observational Health Data Sciences and Informatics, <https://www.ohdsi.org>
21) Clinical Data Interchange Standards Consortium, <https://www.cdisc.org>
22) GO FAIR Initiative, <https://www.go-fair.org>
23) 健康・医療戦略推進本部、第8回 ゲノム医療協議会 資料3、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome_dai8/gijisidai.html
24) Casaletto, James, et al. Federated analysis of BRCA1 and BRCA2 variation in a Japanese cohort. *Cell genomics*, 2022, 2.3: 100109.

トが行われている。Beacon技術とは、各機関が管理するゲノム情報に含まれる特定の変異の有無に関する情報を提供するAPIであり、情報自体の共有を行うことなく、全参加機関の情報に対して検索が可能となる Federated Approach の一つである(図5)。このような横断検索を可能とする技術は、同一な構造の情報を複数の機関で分散して保持している際に有効となる。2021年時点では、42の機関がBeaconを利用しており、100万以上のサンプルから検索が可能となっている²⁵⁾。現在でも、プロジェクトは進行中であり、ゲノム情報以外のフィルター条件の追加や、実際の情報へのアクセスを行う際の使用条件の確認等が Beacon を利用して可能となってきている。現在、Beacon技術は本邦のNBDC (National Bioscience Database Center) のデータベースにおいても採用されている。この技術は、ゲノムの変異だけでなく、疾患や使用薬剤にも応用可能であり、本邦におけるバイオバンクや次世代医療基盤法の匿名加工医療情報作成事業者の間の横断検索への応用が可能であると考えられる。

図5 Beacon のイメージ図



出所：Rambla, Jordi, et al. Beacon v2 and beacon networks: a “lingua franca” for federated data discovery in biomedical genomics, and beyond. *Human mutation*, 2022, 43.6: 791-799.

CanDIG

カナダにおいて医療情報を利用するためのプラットフォームであり、現時点でカナダにおいてゲノム情報を管理する5つのプロジェクトが参加している。カナダは複数の州からなる連邦国家であり、医療情報のプライバシー保護に関する規制は各州法に従う必要があるため、国内であっても個別情報の集約を行うことが困難である。この問題に対応するために GA4GH で開発された分散型の情報利用の体制が採用されている。CanDIGでは、情報を保有する各参加機関が、自らが管理する情報の利用を完全に管理可能とするために、管理組織を設ける中央集権的なシステムの構築を避け、非中央集権型のモデルを採用した²⁶⁾。独立した複数の事業者からなる本邦の匿名加工医療情報作成事業者においても、中央にプロジェクトを管理する組織を置くことが困難となる可能性があり、これらの取り組みは今後の運用の参考となり得る。このような非中央集権型の情報管理は、プラットフォームによる情報の独占などを避けるために近年注目されているが、管理組織を置かないことによって検討すべき事項も増加する。このような情報基盤を採用する際の留意点として、CanDIGでは以下の点が検討されている。

－認証 (AuthN : authentication)

認証とは、情報へのアクセスを行う個人が、本人であることを確認することを指す。中央集権型の方法をとる場合は、集約された情報を管理する機関において、一元的な管理がなされることが一般的であるが、非中央集権型の情報管理を行う場合は、情報アクセスの申請を受けた機関ごとに、情報利用を申請した個人の確認が必要となるため、本人確認の作業が、複数の機関で重複することとなる。そこで、GA4GHでは、GA4GH Passport という仕組みを導入し、OpenID Connect (承認サーバーの認証に基づいて、利用者の身元を確認

25) Harrow, Jennifer, et al. ELIXIR-EXCELERATE: establishing Europe’s data infrastructure for the life science research of the future. *The EMBO Journal*, 2021, 40.6: e107409.

26) Dursi, L. Jonathan, et al. CanDIG: Federated network across Canada for multi-omic and health data discovery and analysis. *Cell Genomics*, 2021, 1.2: 100033.

する方法)により利用者のID情報を全ての参加機関で利用可能としており、CanDIGにおいてもこの認証方法が採用されている。

－認可 (AuthZ: authorization)

認可とは、認証された個人や組織が閲覧できる情報や、実行できる解析を決定することを指す。非中央集権型の情報管理を採用している場合は、情報へのアクセスに関する決定を外部の機関に委任することが難しい局面が多く、承認の最終決定は情報を管理する各機関が行うこととなる。CanDIG内に保管されている情報の多くは、国家的なプロジェクトの一部であるため、各プロジェクトのデータアクセス委員会の決定とともに判断がなされている。

－解析の流れ

非中央集権型の情報管理を採用している場合は、各機関において解析を実施する必要があるため、解析の実行方法の管理も必要となる。最も単純な方法は、利用者が全ての機関にクエリを個々に送付して結果を得る方法となるが、結果を集約する際に、それぞれの結果がどこの機関に由来する結果であるかが特定可能となり、情報漏洩に繋がるリスクが増加する。また、結果の統合を特定の機関が担うと、非中央集権型の情報管理を採用したメリットが低下してしまう。このような事項を踏まえ、CanDIGでは、これらの中間の考え方となる Peer-to-Peer 型という方法がとられており、最初に解析を要求された機関が、他のすべての機関に解析の要求を行い、結果を統合することによって、解析の効率と個人情報保護の強化を行っている。

－各機関での結果の共有

解析の流れの項目で触れたように、各機関内で解析を実行した場合、結果を統合する際に機関名と結果が紐づいてしまうと、情報漏洩に繋がるリスクが増加する。解析結果共有の際の技術的な対策として、差分プライバシーやマルチパーティー計算の利用が検討されている。CanDIGにおいて

は、現時点では参加機関が少なく、機関間の信頼関係が強いいためこれらの処理は採用していないが、今後プログラムが発展していくにつれて、導入の検討が必要となることが見込まれている。

－情報へのアクセス管理

各機関に情報が分散していることにより、情報へのアクセス履歴も各機関において管理されることとなり、アクセス情報のサイロ化が生じることになる。アクセスの履歴は機密情報利用の追跡の観点と、情報の需要把握などにも利用可能な情報であり、参加する機関全体で履歴を管理できることが望ましいとされる。CanDIGでは、現時点では各機関で履歴を管理しており、機関の間で連携を行い全体の管理を行っているが、情報量や参加機関が増加するにつれてこのような管理手法の運用は不可能となるため、全体で情報へのアクセス履歴を管理できる方法への移行を検討している。

その他の取り組み

欧州やカナダだけではなく、その他の地域や疾患領域で GA4GH が開発した標準は利用され始めている。米国の NIH (国立衛生研究所) と英国の ウェルカム・トラストはアフリカ科学アカデミーと共同で、アフリカ人集団に関する大規模なゲノム研究を行う H3Africa というコンソーシアムを設立し、情報の不均衡を解消する試みを行っている。その他にも、これまでに紹介した、欧州、カナダ、アフリカという大陸横断的な情報交換を目指す CINECA プロジェクトや希少疾患のゲノムプラットフォームである Matchmaker でも GA4GH の標準が利用されている。

まとめ

本稿では、最も機微な個人情報として扱われているゲノム情報を中心に、情報連携の際に採用が検討される技術的措置を紹介した。今回紹介した方法は、個人情報を保護するために開発されているものであるため、情報の提供者を守ることが第一優先に考えられているが、情報を利用する製薬企業等の立場に立っても、個人情報の管理を容易

にするものであり、製薬業界としても、医療情報の二次利用を行う際に導入を促進していく必要があると考える。特に、次世代医療基盤法の改正に伴って認定利用事業者に求められる、より強固な情報管理への対応として、Five Safes framework とクラウド環境を組み合わせた Genomics England の構造は参考となる点が多いだろう。バイオバンクでは、東北メディカル・メガバンク機構では、既に遠隔地からの情報へのアクセス、スーパーコンピュータの利用が可能となっており、他のバイオバンクにおいても解析環境の整備は進んでいくことが見込まれる。さらに、機微な情報を機関の外部に提供できないことにより、情報の統合が困難になっている状況は、本邦におけるバイオバンクや次世代医療基盤法の匿名加工医療情報作成事業者においても、本稿で示した事例と類似した事象が発生しており、利用者側からはどの事業者が求める情報を保持しているのかが認識しづ

らい現状がある。バイオバンクに関しては、AMED が国内の大規模ゲノム情報を検索可能とする計画において、クラウドを利用した解析環境を構築することが公表されているが²⁷⁾、統合検索環境で各バイオバンクが保有している情報に関して、どこまで詳細な情報を利用した分析が可能となるかに応じて、情報アクセスの構造を検討する必要がある。次世代医療基盤法に関しても、将来的に仮名加工医療情報作成事業者が増加していくと、仮名加工医療情報作成事業者の間での情報連携が求められることが想定される。機微な情報を扱うために丁寧に検討が行われているゲノム分野での情報連携の構造は、本邦の医療情報の活用においても応用可能な視点が多く存在しており、法的措置の強化だけでなく、新たな技術を活用した情報保護の強化と情報活用の推進に関する議論も進んでいくことが期待される。

27) 健康・医療戦略推進本部、第5回ゲノム医療協議会資料3-1、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome_dai5/gijisidai.html

製薬産業の立場から見た介護に関するトピックス

医薬産業政策研究所 統括研究員 伊藤 稔

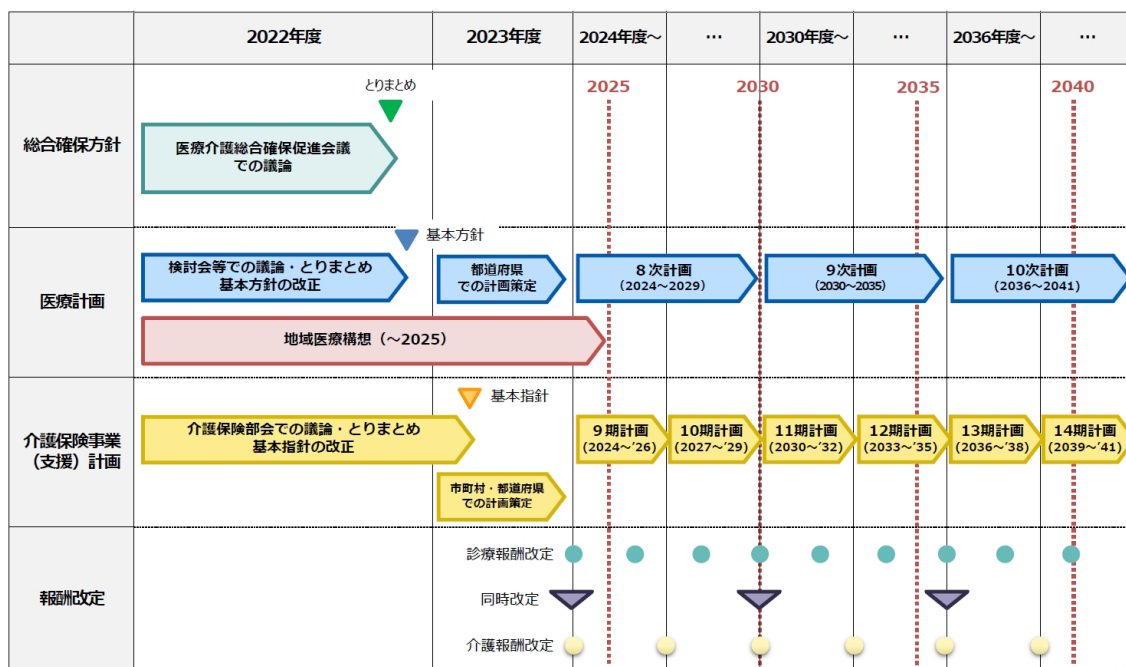
1. はじめに

「医療と介護の一体的な改革」「切れ目のない医療・介護提供体制」等を耳にする機会が増えた。製薬産業の立場からはともすると医療に目が向がちであるが、超高齢者社会では「治す医療」のみでは限界があり、人生の最終段階の医療・介護のあり方を含め、「治し・支える医療」が求められるとの主張も既になされている。¹⁾ 革新新の新薬の創出を第一義とする製薬産業においても「介護」を考慮する必要がある、今後益々増していくと思われる

る。医薬品の費用対効果評価においても公的介護費を含めた分析が近年認められるようになった。

2024年度は、6年に一度の診療報酬・介護報酬の同時改定が予定されている一方、第8次医療計画、第9期介護保険事業（支援）計画が同時スタートする重要な年度である。（図1）²⁾ 現在は2024年度に向けての議論が活発になされつつある。こうした状況を踏まえ、現時点で押さえることが望ましい「介護」のトピックスにつき整理することを目的に調査研究を進めた。

図1 医療・介護に関連するスケジュール



出所：厚生労働省 第19回医療介護総合確保促進会議 資料1²⁾

1) 三菱UFJリサーチ&コンサルティング 地域包括ケア研究会 地域包括ケアシステムと地域マネジメント（2016年3月）
<https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-12400000-Hokenkyoku/0000126435.pdf>
 2) 厚生労働省 第19回医療介護総合確保促進会議 資料1（令和5年2月16日）

2. 医療と介護の一体的な改革

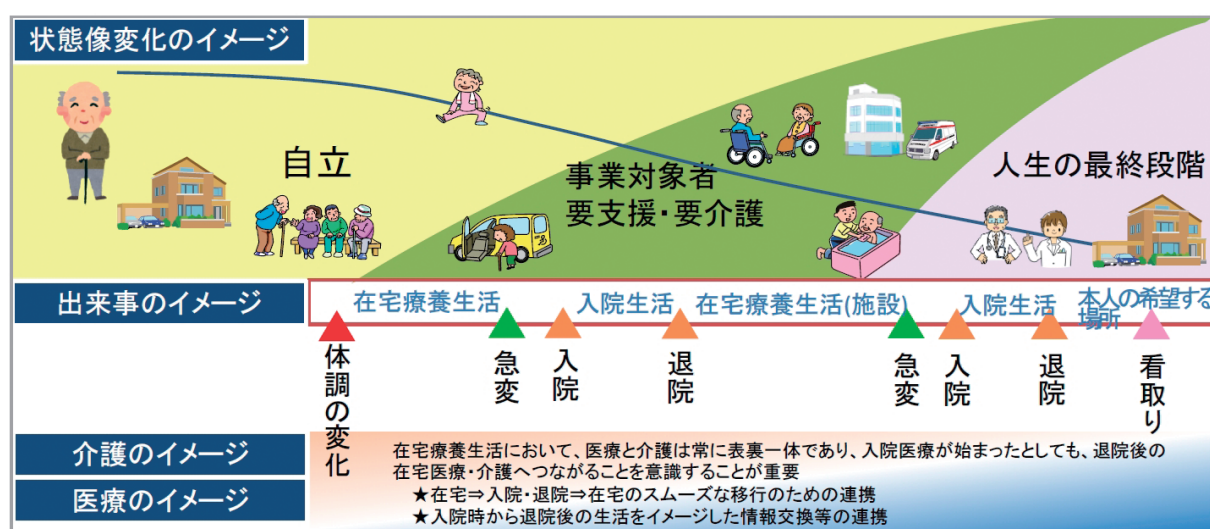
全国的には、65歳以上人口は2040年を超えるまで、75歳以上人口は2050年を超えるまで増加が継続するとされている。また、高齢化が一層進展する中で、医療・介護の複合ニーズを有する患者・利用者が増加し、医療・介護の連携の必要性が高まっていくと考えられている。³⁾ 図2⁴⁾は、高齢期における医療・介護をイメージしたものであるが、医療・介護が切れ目なく繰り返される様子が示され、両者が表裏一体の関係にあり、その連携

が重要であることを示唆する内容となっている。

切れ目のない医療・介護提供体制を構築するためには、医療計画と介護保険計画を別個に作成するとその連携が難しくなる。よって制度上、両計画の上位概念・上位指針である「地域における医療及び介護を総合的に確保するための基本的な方針」（以下、総合確保方針）が設けられている。総合確保方針と医療計画・介護保険事業（支援）計画の関係を図3⁴⁾に示す。

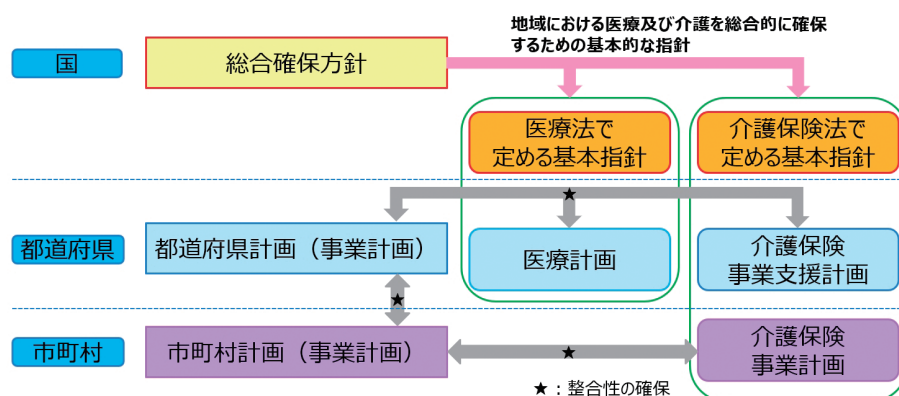
2023年3月17日に新たな総合確保方針⁵⁾が告示

図2 医療・介護のイメージ



出所：厚生労働省 在宅医療・介護連携推進事業の手引き Ver3⁴⁾

図3 総合確保方針と他計画の関係性の整理



出所：厚生労働省 在宅医療・介護連携推進事業の手引き Ver3⁴⁾ より作図

3) 厚生労働省 医療及び介護の総合的な確保の意義 <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000060713.html>

4) 厚生労働省 在宅医療・介護連携推進事業の手引き Ver3（令和2年9月）

5) 厚生労働省 総合確保方針 <https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/001074141.pdf>

され、第8次医療計画、第9期介護保険事業（支援）計画に向けての方向性が明示された。以前の方針と比較した際の新方針の意義・基本的方向性を図4²⁾に示す。

新たな総合確保方針を見た場合、最も特徴的な点の一つは「その後の生産年齢人口の減少を見据え」との記述が「意義」に明記された事にあると思われる。従来から「少子高齢化」との言葉は散見されたが、今後は社会保障を語る上でのキーワードとして『高齢化』『少子化・人口減少』を区分して捉えることが望ましいと思われる。総合確保方針に先立つ2022年12月に取り纏められた全世代型社会保障構築会議 報告書⁶⁾においても、「目指すべき社会の将来方向」として3点があげられているが、その筆頭として「少子化・人口減少の流れを変える」旨が示されている。少子化・人口減少の進行が、経済活動における生産・消費の縮小、社会保障機能の低下をもたらし、多くの地域社会を消滅の危機に導くなど経済社会を「縮小スパイラル」に突入させる等の危機意識に富む記述がみられる。新たな総合確保方針の基本的方向性(2)として「サービス提供人材の確保と働き方改革」

が示されているが、生産年齢人口が急減する中、医療・介護提供体制に必要な医療・介護人材を確保することの重要性が謳われており、人口減少の影響はもはや軽視できない状況になりつつあることを窺わせる。

新たな総合確保方針を見た場合、特徴的な二点目は「地域」との言葉が頻出することにある。基本的方向性(1)では「地域完結型の医療・介護提供体制の構築」が、(5)では「地域共生社会づくり」との記述が示されており、『地域』がもう一つのキーワードと捉えることができる。『地域』の意味する所には、人口構成の変化や医療・介護需要の動向が地域ごとに異なり、地域の実情に応じた医療・介護提供体制の確保を図っていくことが重要であるとの視点と、地域の住民同士が支え合うことが重要であるとの二つの視点があると思われる。全世代型社会保障構築会議 報告書の「目指すべき社会の将来方向」でも「地域の支え合いを強める」旨が三点目として示されており、それぞれの地域で医療・介護・福祉等の包括的ケア提供体制の整備が求められることや、住民同士が助け合う互助の機能強化が必要となってくることが示さ

図4 総合確保方針の意義・基本的方向性



出所：厚生労働省 第19回医療介護総合確保促進会議 資料1²⁾ 一部改変

6) 内閣官房 全世代型社会保障構築会議 報告書（2022年12月16日） https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/zensedai_hosyo/pdf/20221216houkokusyo.pdf

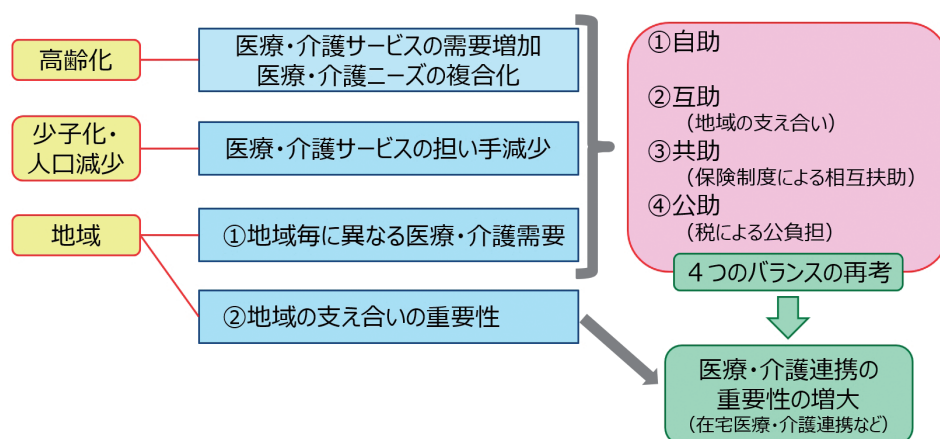
れている。

総合確保方針の基本的方向性の別添として「ポスト2025年の医療・介護提供体制の姿」が示されている。その実現すべき3つの柱の一つは、医療・介護提供主体の連携により、必要な時に「治し、支える」医療や個別ニーズに寄り添う柔軟・多様な介護が地域完結で受けられることとされている。心身の状態が悪化した場合でも、住み慣れた地域で生活を継続できることをゴールとみた場合、それを『高齢化』による医療・介護サービスの需要増・ニーズの複合化、『少子化・人口減少』による担い手減少との状況下で成し遂げなければならない。しかもその状況は『地域』ごとにまだら模様で進行していく。これに対応するためには、自助・互助（地域の支え合い）・共助（保険制度による相互扶助）・公助（税による公負担）バランスの再考が望ましいとされている。¹⁾ 従来は、共助（介護保険）に重点が置かれる傾向が強かったが、今後は自助・互助の重みもより増していくとされている。具体的には切れ目のない在宅医療・介護連携の取り組みがより重要性を増していくと考えられる。欧米諸国においても、介護政策を在宅介

護によりシフトさせようとしているとの指摘もある。⁷⁾ 以上のトレンドを俯瞰したイメージを図5に示す。

製薬産業は、このようなトレンドを考慮しながら事業を考えていく必要がある。創薬においては、介護への効果・貢献もより一層視野にいれた医薬品開発が重要になってくると思われる。具体的疾患としては、介護が必要となった主な原因疾患である認知症・フレイル・循環器病・糖尿病⁸⁾等に加え、日常生活の制限に関連する腰痛症・関節症・眼の病気等⁹⁾も望まれ、在宅医療での使用に適した剤型開発も歓迎されるようになって想定できる。更に、医療・介護の担い手減少を前提にすると、投与間隔が長く、投与の手間が簡便で担い手の負担を減らすことが可能な医薬品も歓迎されると思われる。中野らは医薬品の多様な価値として、介護負担の軽減（主に家族介護者）、医療負荷の軽減（人的・物的負荷）を含めた検討を行っている。¹⁰⁾ こうした価値がより一層重視されてもおかしくない状況が近づきつつあることを意識して、創薬を考えていくことも意義深いと思われる。

図5 医療・介護のトレンド俯瞰



出所：医薬産業政策研究所にて作成

7) 内閣府経済社会総合研究所 西崎寿美 介護の質の変化を反映した価格の把握手法に関する論点 ESRI Research Note No.63 (March 2022) https://www.esri.cao.go.jp/jp/esri/archive/e_rnote/e_rnote070/e_rnote063.pdf

8) 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.65 伊藤稔 介護系データから見た高齢者の健康状況 (2022年3月)

9) 厚生労働省 健康寿命のあり方に関する有識者研究会報告書 (平成31年3月28日) <https://www.mhlw.go.jp/content/10904750/000495323.pdf>

10) 医薬産業政策研究所 リサーチペーパー・シリーズ No.76 中野陽介ら 医薬品の社会的価値の多面的評価 (2021年3月)

3. 医薬品の価値における「介護」評価の可能性

前章で介護への効果・貢献も視野に入れた医薬品開発の重要性について言及したが、現制度においても「介護」を評価する動きが見られる。2022年1月に了承された「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第3版¹¹⁾」(以下、分析ガイドライン第3版)において、公的介護費へ与える影響が、評価対象技術にとって重要である場合には、「公的医療・介護の立場」の分析を行ってよく、「公的医療・介護の立場」からの分析の場合、実際のデータがあれば家族等の介護者や看護者に与えるQOL値への影響について考慮にいれてもよい旨が追記されたことが、三浦によって指摘されている。¹²⁾ 実際の分析ガイドライン第3版の介護費関連記載の抜粋を図6に示す。

分析ガイドライン第3版の11.2で示されているように、公的介護費を費用に含める場合、要介護度・要支援度別に費用を集計する旨が推奨されて

いる。就いては、要介護度・要支援度について改めて確認し、評価の可能性について考察したい。

要介護認定は、市町村の認定調査員による認定調査(基本調査)がスタートである。この調査結果及び主治医意見書に基づき一次判定を行い、その後介護認定審査会で二次判定がなされ、市町村が認定を行うとされている。¹³⁾ (図7)

要介護認定は、一次判定・二次判定とも原則として「要介護認定等基準時間」により判断される。要介護認定等基準時間は、認定調査の結果(被認定者の能力・介助の方法・障害や現象の有無)から、統計データに基づき推計された介護に要する時間(介護の手間)を「分」という単位で示したものである。注意すべき点は、要介護認定等基準時間は実際のケアに要した時間を示すものではなく、介護の手間がどの程度掛かるかを相対的に示したものだということである。要介護度(要介護状態等区分)は表1の如く区分される¹⁴⁾

要介護認定等基準時間は、日常生活における8

図6 費用対効果評価の分析ガイドライン第3版 介護費関連記載の抜粋

2. 分析の立場(抜粋)

- ・2.3 公的介護費へ与える影響が、評価対象技術にとって重要である場合には、「公的医療・介護の立場」の分析を行ってもよい。

8. 効果指標の選択(抜粋)

- ・8.3 PBMによりQOL値を測定する場合には、対象者本人が回答することが原則である。
 - ・8.3.1 PBMを用いる場合、対象者本人からQOL値が得られない場合に限り、家族や介護者等による代理の回答を用いてもよい。
- ・8.5 「公的医療・介護の立場」からの分析の場合、実際のデータがあれば家族等の介護者や看護者に与えるQOL値への影響について考慮に入れてもよい。

11. 公的介護費・生産性損失の取り扱い(抜粋)

- ・11.1 「公的医療・介護の立場」では、基本分析に加えて、公的介護費を含める追加的分析を実施することができる。なお、公的介護費は国内の知見に基づき推計されたものを用いる。
- ・11.2 公的介護費を費用に含める場合は、要介護度・要支援度別に費用を集計することを推奨する。
- ・11.3 要介護度ごとの公的介護保険の利用額は、対象疾患等における実際の資源消費量に基づくことが原則であるが、測定することが困難な場合は平均的な受給者1人当たり費用額等を用いてもよい。

注：PBM (preference-based measure：選好に基づく尺度)

出所：国立保健医療科学院 中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第3版¹¹⁾ より抜粋

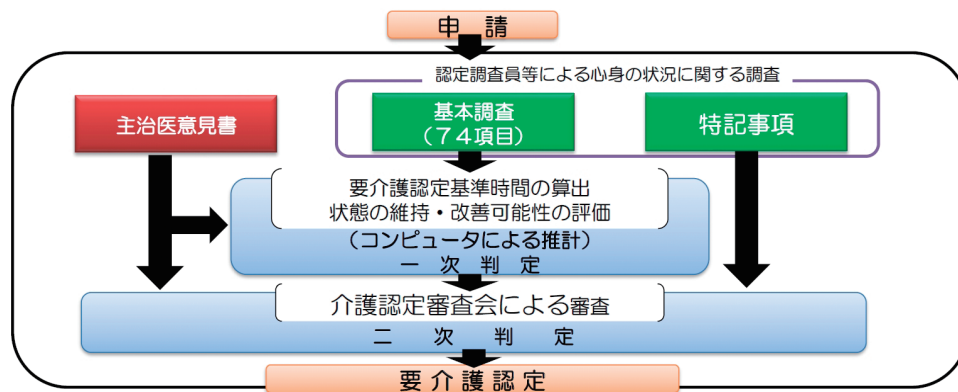
11) 国立保健医療科学院 中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第3版(2022年1月19日中医協総会了承) https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_ja.pdf

12) 医薬産業政策研究所 政策研ニュースNo.68 三浦佑樹 日本の費用対効果評価制度のこれまでとこれから(2023年3月)

13) 厚生労働省 介護保険制度の概要(令和3年5月) <https://www.mhlw.go.jp/content/000801559.pdf>

14) 厚生労働省 介護認定審査会委員テキスト2009改訂版(令和3年4月改訂) <https://www.mhlw.go.jp/content/000819417.pdf>

図7 要介護（要支援）認定のプロセス



出所：厚生労働省 介護保険制度の概要¹³⁾

つの生活場面ごとの行為「直接生活介助（食事・排泄・移動・清潔保持に細分される）」、「間接生活介助」、「BPSD 関連行為」、「機能訓練関連行為」、「医療関連行為」の時間（介護の手間）の合計となっており、各行為区分ごとの時間は8つの樹形モデルに基づき算出される。¹⁵⁾

樹形モデルは、カスケードを辿ることによってその行為区分の時間が得られるようになっている。カスケードは認定調査結果と中間評価項目得点（認定調査結果より算出される）によって、その分岐の

判断がなされる。8つの樹形モデルの合計時間が被認定者の要介護認定等基準時間となり、これによって要介護度（要介護状態等区分）が決定される。つまり、認定調査結果から操作的に推計される要介護認定等基準時間を経て要介護度が決定されている。実務の場ではコンピュータにより一次判定がなされている。

以下、表2に8つの行為区分（樹形モデル名）と時間の表示範囲を示し、図8に「食事」の樹形モデルを例示し、図9に樹形モデルによる要介護

表1 要介護状態区分等と要介護認定等基準時間の関係

区分	要介護認定等基準時間
要支援1	25分以上32分未満
要支援2・要介護1	32分以上50分未満
要介護2	50分以上70分未満
要介護3	70分以上90分未満
要介護4	90分以上110分未満
要介護5	110分以上

※要支援2と要介護1の違い
 ①認知機能や思考・感情等の障害みられ、認知症の可能性があると診断されている。
 ②半年以内に心身状態に変化があり要介護度が上がる可能性がある。
 以上の2点があると要介護1と判定する。

出所：厚生労働省 介護認定審査会委員テキスト2009改訂版（令和3年4月改訂）¹⁴⁾ 一部改変

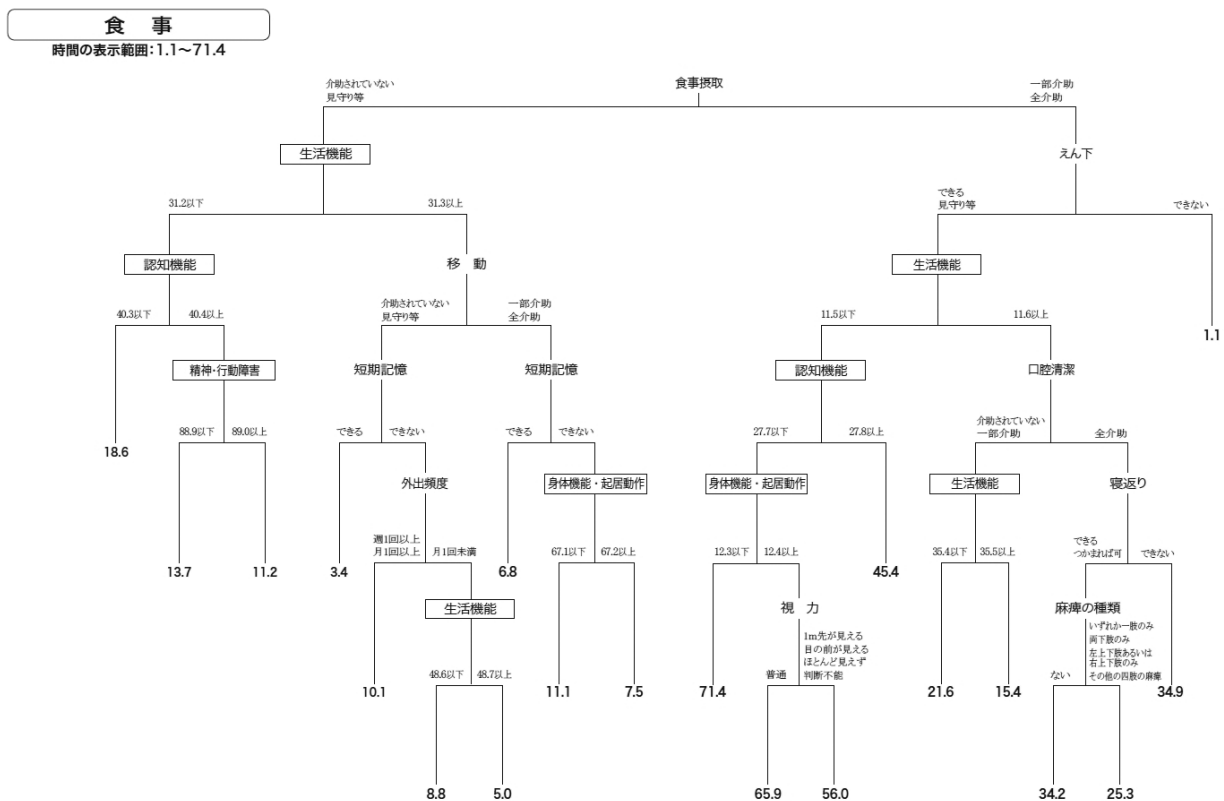
表2 行為区分（樹形モデル名）と時間の表示範囲

行為区分 (樹形モデル名)	行為の内容	時間の表示範囲
直接生活介助	食 事	1.1分～71.4分
	排 泄	0.2分～28.0分
	移 動	0.4分～21.4分
	清潔保持	1.2分～24.3分
間接生活介助	洗濯、掃除等の家事援助等	0.4分～11.3分
BPSD 関連行為	徘徊に対する探索、不潔な行為に対する後始末等	5.8分～21.2分
機能訓練関連行為	歩行訓練、日常生活訓練等の機能訓練	0.5分～15.4分
医療関連行為	輸液の管理、褥瘡の処置等の診療の補助	1.0分～37.2分

出所：厚生労働省 介護認定審査会委員テキスト2009改訂版（令和3年4月改訂）¹⁴⁾ より作成

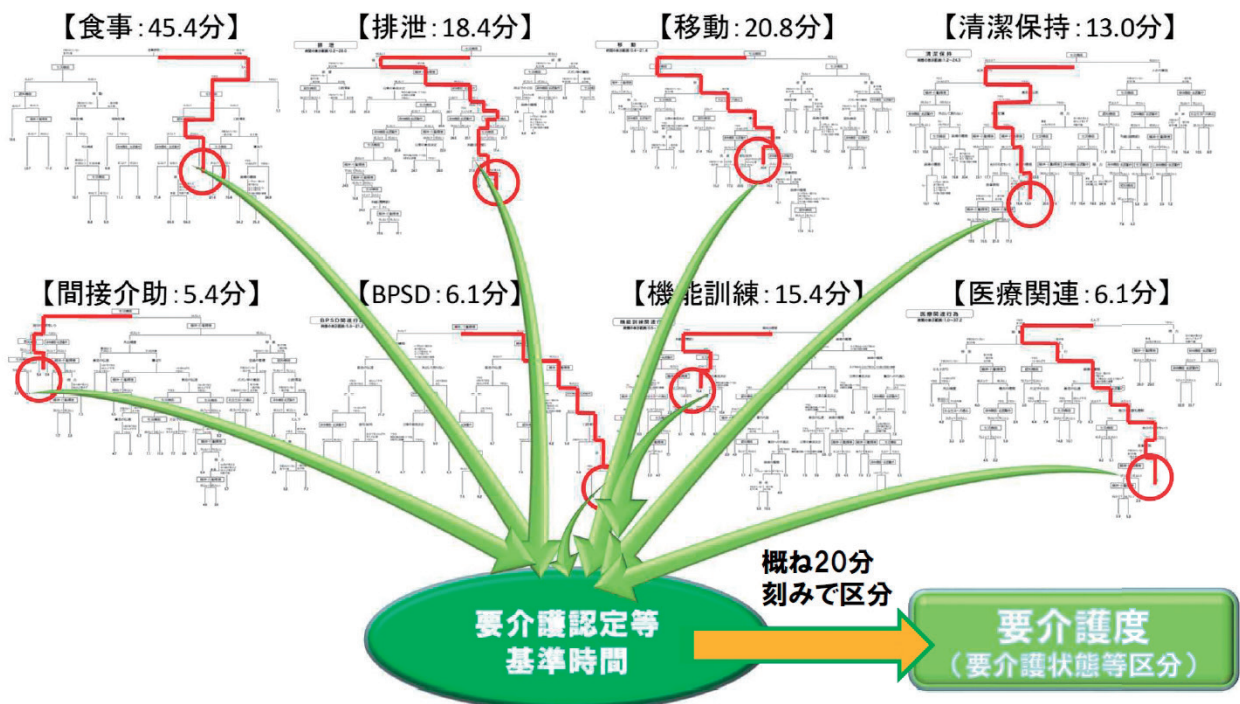
15) より正確には、8つの生活場面ごとの行為区分の時間と、「認知症加算」の時間の合計が要介護認定等基準時間となる。「認知症加算」の詳細については、14) 介護認定審査会委員テキスト2009改訂版（令和3年4月改訂）を参照されたい。

図8 樹形モデルの例（食事）



出所：厚生労働省 介護認定審査会委員テキスト2009改訂版（令和3年4月改訂）¹⁴⁾

図9 樹形モデルによる要介護認定のイメージ



出所：兵庫県 令和4年度兵庫県認定調査員研修01講義資料（要介護認定の概要について）¹⁶⁾

16) 兵庫県 令和4年度兵庫県認定調査員研修01講義資料（要介護認定の概要について） <https://web.pref.hyogo.lg.jp/kf05/documents/01.pdf>

認定のイメージを示す。¹⁴⁾

要介護度・要支援度別に費用を集計するためには、医薬品による要介護度・要支援度への影響を捉えることが可能であることがポイントと思われる。要介護認定の在り方を詳細に見た場合、要介護度・要支援度は要介護認定等基準時間にて区分され、要介護認定等基準時間は、医薬品の症状への効果により影響される認定調査結果から操作的に推計できる。つまり、医薬品の症状への効果による認定調査項目への影響を、介護認定等基準時間という数値に置き換えることで推計し、要介護度・要支援度の変化を捉えることには可能性があると思われた。よって医薬品の価値における「介護」評価の可能性は少なからずあると考えられた。

一方で、認定調査の基本項目は74項目と多いこと、認定の有効期間（見直し期間）が区分変更申請で原則6か月、更新申請で原則12か月¹⁷⁾と長いこと等の制限があることには注意が必要である。

4. 介護をしている人の負担について

介護に関するトピックスの3点目として、介護をしている人（以下、介護実施者。主に家族介護者が該当すると考えられる）の推定人口・介護に費やす時間・その負担の程度等を総務省統計局が実施している「社会生活基本調査」をもとに検討する。社会生活基本調査は、統計法に基づく基幹統計『社会生活基本統計』を作成するための統計調査であり、生活時間の配分や余暇時間における主な活動の状況等、国民の社会生活の実態を明らかにするための基礎資料を得ることが目的とされている。調査は、昭和51年以来5年ごとに行われており、令和3年調査は10回目当たる。調査対象は、指定する調査区（全国で約7,600調査区）内にある世帯から無作為に選定した約9万1千世帯の10歳以上の世帯員約19万人であり、十分に規模の大きい調査である。なお、社会福祉施設に入所している人は調査対象から除外されている。¹⁸⁾

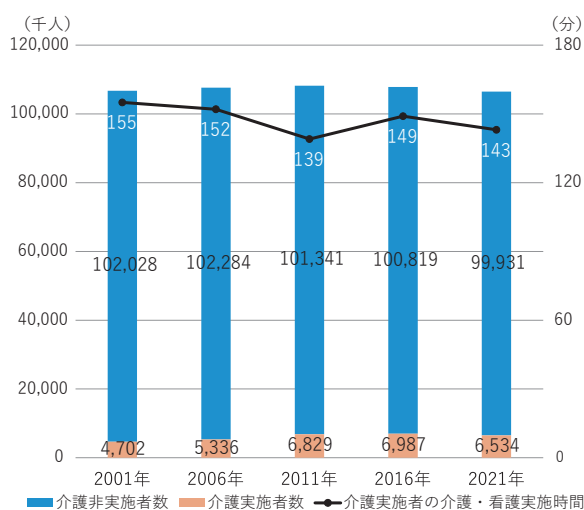
今般の調査においては、データアクセスの関係より、平成13年から令和3年までの5回の社会生活基本調査を対象とし、生活時間に関する結果（生活時間編 全国）を集計した。¹⁹⁾

介護をしている人（以下、介護実施者）・介護をしていない人（以下、介護非実施者）の推定人口並びに介護実施者の介護・看護実施時間（介護・看護を実施した人のみの一人1日当たりの平均行動時間）を図10に示す。

介護実施者の推定人口は、2001年以降増加傾向にあり、2016年には698.7万人と最高値に達した。2001年から15年間で約5割増大したことになる。2021年は653.4万人であり、微減（2016年から約6.5%減）との状況であった。一方、介護実施者が介護・看護に費やした時間は、2001年に155分と最高値を示したが、以降減少傾向を示し、2011年に最低値の139分となった。10年間で約1割減少したことになる。2011年以降の10年間は2時間半弱程度でほぼ横這い傾向であった。2021年は143分であった。

引き続き、介護実施者の状況が、就業の有無に

図10 介護実施有無別の推定人口・介護実施者の介護・看護実施時間



出所：社会生活基本調査¹⁹⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

17) 介護認定審査会の意見により、被認定者の状態から有効期間が3か月から36か月の間で変更されることもある。

18) 総務省統計局 令和3年社会生活基本調査の概要 <https://www.stat.go.jp/data/shakai/2021/gaiyou.html>

19) e-Stat（政府統計の総合窓口）社会生活基本調査（平成13年、平成18年、平成23年、平成28年、令和3年）
<https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?page=1&toukei=00200533&cycle=0&metadata=1&data=1>

よりどのような影響を受けるかを詳細に見ることを目的として、有業者（収入を目的とした仕事を続けている人、自家営業の手伝いは無給であっても継続して仕事をしていれば含まれる）と無業者（有業者以外の者）を区分した推定人口並びに介護・看護実施時間を調査した。結果を図11に示す。

有業の介護実施者の推定人口は、2001年以降増加傾向にあり、2016年には396.8万人と最高値に達した。2001年から15年間で約4割増大した。2021年は386.8万人であり、やや微減（2016年から約2.5%減）との状況であった。一方、無業の介護実施者の推定人口も2001年以降増加傾向を示し、2011年には305.3万人と最高値に達した。2001年から10年間で約6割増大した。2016年は横這い傾向だったが、2021年は265.1万人とやや減少傾向（2011年から約13.1%減）を示した。有業者と無業者の比率は1：0.68～0.78程度であった。

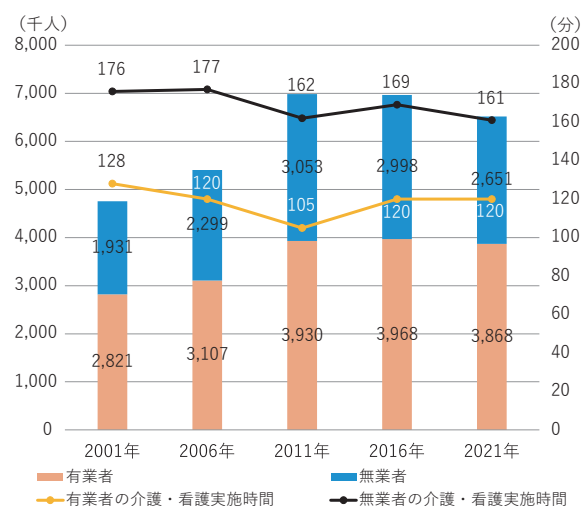
有業の介護実施者が介護・看護に費やした時間は、2001年に128分と最高値であったが、以降減少傾向を示し、2011年に最低値の105分となった。2016年・2021年はともに120分と再び増加し、この20年間ではほぼ2時間程度の横這い傾向と見るこ

とができた。一方、無業の介護実施者では、2001年に176分と最高値であったが、以降ほぼ減少傾向を示し、2021年に最低値の161分となった。有業者と無業者を比較した場合、無業者の方が1.34～1.54倍程度介護・看護に費やす時間が長い傾向が見られた。

引き続き、介護実施者と介護非実施者での時間の費やし方（特に時間を費やす割合の大きい仕事・余暇等に費やす時間）の違いを詳細に見ることを目的に、介護実施有無別の仕事（収入を伴う仕事）、3次活動^{20）}（余暇、スポーツ、交際等）の行動者平均時間を調査した。結果を図12に示す。

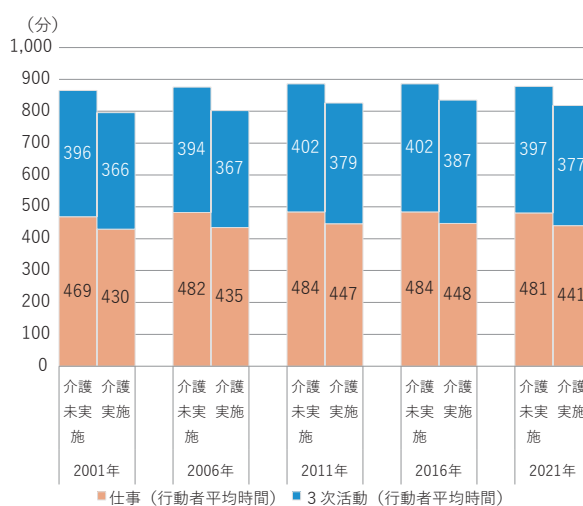
仕事に費やす時間は、介護実施者では2001年の430分から微増傾向を示したが、2011年以降はほぼ440分台で推移した。2021年は441分であった。一方、介護未実施者では2006年以降ほぼ横這いの傾向を示し、480分前半で推移した。2021年は481分であった。3次活動^{20）}に費やす時間は、介護実施者では2001年の366分から微増傾向で推移し、2016年に最高値387分を示した。2021年はやや減少し377分であった。一方、介護未実施者では2001年以降からはほぼ横這い傾向を示し、400分前後で推移

図11 介護実施者の就業有無別推定人口、介護・看護実施時間



出所：社会生活基本調査¹⁹⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図12 介護実施有無別の仕事、3次活動の平均行動時間



出所：社会生活基本調査¹⁹⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

20) 3次活動…移動（通勤・通学を除く）、テレビ・ラジオ・新聞・雑誌、休養・くつろぎ、学習・自己啓発・訓練（学業以外）、趣味・娯楽、スポーツ、ボランティア活動・社会参加活動、交際・付き合い、受診・療養、その他

した。2021年は397分であった。介護実施者と介護未実施者を比較した場合、20年間を通じて仕事に費やす時間は40分程度短く、3次活動に費やす時間は30～20分程度短かった。

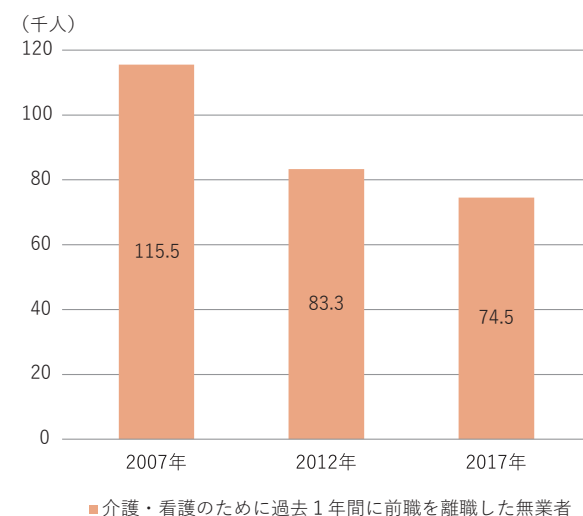
以上の結果より、有業の介護実施者は約390万人存在しており、有業の介護未実施者に比べ仕事に費やす時間が約40分短いことを確認できた。よって介護負担を減ずることで有業の介護実施者の生産活動が増大する可能性が示唆された。介護未実施者の仕事に費やす時間（約480分）で換算すると、約32.5万人分の生産活動を創出できることとなり、軽視できない規模の負担となっていると思われた。

一方、無業の介護実施者の中には、介護のために無業となった介護離職者も含まれていることが想定され、この負担の程度を検討することも重要だと思われた。検討に際しては総務省統計局が実施している「就業構造基本調査」を用いた。就業構造基本調査は、国民の就業及び不就業の状態を調査し、全国及び地域別の就業構造に関する基礎資料を得ることを目的としている。調査は昭和57年以降は5年ごとに行われている。²¹⁾ 令和4年度調査が最新調査ではあるが、結果の公表がまだのため（2023年5月現在）、平成29年（2017年）調査²²⁾ 以前の結果を用いた。介護・看護のために過去1年間に前職を離職した無業者の推移（2007年～2017年）を図13に示す。

介護・看護のために過去1年間に前職を離職した無業者（介護離職者）は、2007年の約116万人から減少傾向にあり、2017年は約75万人となっていた。2007年～2012年は約32万人減少したが、2012年～2017年の減少幅は約0.9万人に留まり、減少が緩徐となる傾向が見て取れた。近々に公表予定の2022年調査結果を注視すべきと思われた。

介護の負担は、有業の介護実施者と介護離職者を合わせると、約40万人の生産活動に相当すると思われ、決して軽視できない負担が社会的に発生していることが伺われた。

図13 介護・看護のために過去1年間に前職を離職した無業者の推移



出所：平成29年就業構造基本調査 結果の概要²²⁾ を一部抜粋

5. まとめ

介護に関して3つのトピックスを取り上げた。

まず、医療と介護の一体的な改革においては、「高齢化」、「少子・人口減少」、「地域」との3つのキーワードから、医療・介護の連携の重要性が今後益々増大していくことが考えられる旨を言及した。

「高齢化」は、介護対象者の人口が増えるといった単純な事象だけでなく、医療・介護ニーズの複合化が進行することも意味している旨が想定された。「少子・人口減少」が社会保障機能の低下をもたらし、担い手確保が困難になる中で医療・介護提供体制を保持・増強していかななくてはならない。しかも人口構成や医療・介護需要動向は「地域」ごとに異なる形で進行する。こうした状況に対応するために、今後は自助・互助（「地域」の支え合い）の重みが増し、在宅医療・介護の重要性が増大すると思われた。製薬産業の貢献として、介護が必要となる主な原因疾患である認知症・フレイル・循環器病・糖尿病等は勿論、日常生活の制限に関連する腰痛症・関節症・眼の病気等も視野にいった医薬品開発や、担い手の負担を減少可能な

21) 総務省統計局 平成29年就業構造基本調査の概要 <https://www.stat.go.jp/data/shugyou/2017/gaiyou.html>

22) 総務省統計局 平成29年就業構造基本調査 結果の概要 <https://www.stat.go.jp/data/shugyou/2017/pdf/kgaiyou.pdf>

医薬品、在宅での使用に適した剤型開発も歓迎されると思われた。

次いで、医薬品の価値における「介護」評価の可能性を、分析ガイドライン第3版に基づき検討した。現行の要介護認定に着目し、認定調査結果から樹形モデルに基づき操作的・定量的に推計される要介護認定等基準時間により、要介護度（要介護状態等区分）が決定される旨を確認した。医薬品の症状への効果による認定調査結果への影響を、介護認定等基準時間という数値に置き換えることで推計し、要介護度・要支援度の変化を捉えることには可能性があると思われた。より具体的な方法には更なる検討が必要とは思われるが、医薬品の価値における「介護」評価の可能性は少なからずあると考えられた。

最後に、介護実施者の負担について、「社会生活基本調査」「就業構造基本調査」に基づいて検討した。結果として、2021年の状況では介護実施者全体の推計人口は650万人超に昇り、うち有業の介護実施者は約390万人も存在することが確認できた。また、有業の介護実施者は、有業の介護未実施者に比し仕事に費やす時間が約40分短く、これは約32.5万人の生産活動に換算されると考えられた。一方、無業の介護実施者の中には、介護・看護のために前職を離職した介護離職者が約7.5万人（2017年）含まれているとされ、合計約40万人分の

生産活動に影響が生じている可能性もあると試算された。分析ガイドライン第3版¹¹⁾においては、家族等の生産性損失について「看護や介護のために本人以外の生産性が失われることが明らかな場合は、本人の生産性損失と同じ条件・取り扱いのもとで費用として含めてもよい」旨の記載があり、介護実施者の生産性損失に対する医薬品の価値が、今後十分に評価されるようになることにも期待したい。

製薬産業は、健康寿命延伸への貢献を目的の一つとしている。「健康」は傷病の有無のみで判断することは不適切であり、身体的要素に加え、精神的要素・社会的要素も含めた包括的な概念であることや健康寿命の補完的指標として介護保険データの活用が最も妥当と考えられている旨を、政策研ニュースNo.65⁸⁾で筆者は紹介した。つまり、健康寿命は対象者を支える社会や社会保障の在り方、換言すれば医療・介護提供体制の在り方の影響を受ける。また健康寿命を測定する補完的指標としても介護は重要であると考えられている。製薬産業は、医療について考える機会が多いと思われるが、介護についての機会はさほどでもないことが危惧される。医療と介護は、今後益々その距離を縮めて行くことは明らかである。製薬産業も介護を視野に入れた創薬や事業展開が望まれるのではないだろうか。

日本の大手製薬企業のパイプライン分析 ～自社オリジンと外部導入の比較～

医薬産業政策研究所 主任研究員 高橋洋介

1. はじめに

「医薬品を届けることにより、人々の健康に貢献する」、このことに強くコミットしているのが医薬品産業と言えるだろう。しかし、画期的な新薬を創出することは容易ではない。新薬を創出するには通常10年以上という非常に長い研究開発期間を要し、長期にわたる多大な研究開発投資が必要となるだけでなく、さらに創薬の成功確率は非常に低いとされる¹⁾。このような状況下において、前述のコミットメントを達成するためには、研究開発の生産性を高めるための様々な取り組みを推進するだけでなく、多大な研究開発投資を可能にする財務面での強靱な企業体力も欠かせない。

創薬ベンチャー等では、虎の子の1つの開発品を手掛けるケースも多く、ひとたび研究開発で躓いた場合には、研究開発投資を回収できず企業経営が立ち行かなくなることがある。大手から中堅の製薬企業においては、このようなケースに対するリスクヘッジとして複数の候補品の開発を並行して進め、開発に成功した新薬から得る利益によって失敗に終わったプロジェクトに対する投資をカバーしている。こうした経営努力によって「医薬品を患者さんに届けることにより、人々の健康に貢献する」というコミットメントを達成すると

同時に、新薬創出から得られる企業成長によって従業員の安定的な雇用を創出することなどで、経済成長へ貢献しているとも言えるだろう。

本稿では、日本の大手製薬企業の研究開発活動に着目し、自社オリジンの開発品と外部から獲得した開発品（導入品）を比較しながら、新薬の承認を得るまでの実態について2010年以降のパイプラインを対象に調査・分析を行う。具体的には、「どのくらいの数の開発品がパイプライン上に存在したか?」、「それらのうち、現在上市に至った数はどの程度か? 開発中止した数はどの程度か?」、「開発品におけるモダリティの差（化学合成品とバイオ医薬品の差）はあるか?」、「開発時期による変化は認められるのか?」などの観点から分析を行う。

2. 調査方法

医薬品データベースである、Pharmaprojectsの情報をもとに分析を行った。日本の大手製薬企業9社²⁾のパイプライン³⁾において、2010年以降に一度でもアクティブであった開発品⁴⁾を対象とし、1年毎の開発ステージの変遷を調査した。

データベースの性質上、各年における開発ステージは5月時点の情報が抽出されており、この

1) 日本製薬工業協会、てきすとぶっく 製薬産業2022-2023、https://www.jpma.or.jp/news_room/issue/textbook/lofurc000000380k-att/2022_2023.pdf

2) アステラス、第一三共、エーザイ、協和キリン、田辺三菱、小野、塩野義、住友ファーマ、武田の9社

3) プロダクトレベルでパイプライン数をカウントしている。そのため、複数の対象疾患で開発を進めているプロダクトであっても1カウントとしている。ただし、単剤の開発と合剤の開発がそれぞれ行われているケースでは、プロダクトとして異なるために別カウントとなっている。

4) 一度でもアクティブであった開発品とは、2010年以降のいずれかのタイミングにおいて、各企業がIR説明会や有価証券報告書等を通じて開発中（Preclinical または Clinical）であることを公表した開発品である

ため以降の分析結果で示す「現在の開発ステージ」は、2022年5月時点における開発ステージである。データベースは各企業からの公開情報をもとに構築されているため、Preclinical 段階のような開発早期段階の品目に関しては、情報の網羅性に欠けている可能性が高いことに留意する必要がある。また、今回の調査では、開発中止という明確な情報ソースがなかった場合でも、開発情報が消失したものなどは全て開発中止（Discontinued）として集計した。

開発ステージは、早期から順に Preclinical、Phase 1、Phase 2、Phase 3、Approved と分類し、Phase 3 段階の臨床試験を終了後に申請準備中あるいは申請中の品目については Phase 3 段階にあるものとして集計している。

開発品の由来については、データベース上の Originator / Licensee の項を参照し、自社オリジンであるか、導入品（外部からの個別の品目導入、または企業買収による品目獲得）であるかを分類した⁵⁾。

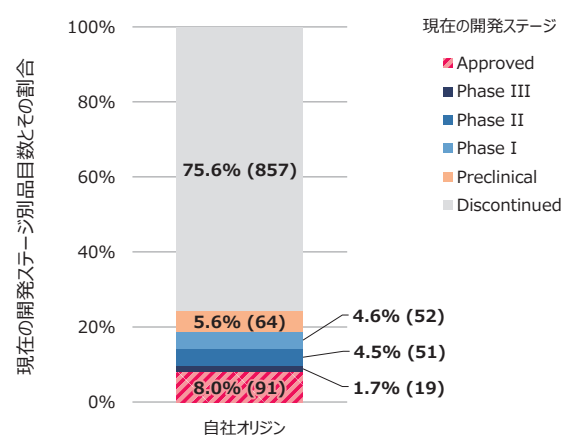
モダリティの分類に関しては、データベース上の Origin の項を参照し、Chemical（化学合成品）、Biological（バイオ医薬品）、Others（その他、診断薬や天然物等）に分類した。

3. 結果

3-1. 自社オリジン品の開発ステージ調査結果

まず、2010年以降にパイプライン上に存在した全ての開発品のうち、自社オリジン品目の現在の開発ステージを調査した(図1)。2022年5月時点では自社オリジン品目は1,134品目存在し、そのうち91品目が承認に至っている。また、Phase 3に19品目、Phase 2に51品目、Phase 1に52品目、Preclinical に64品目、Discontinued に857品目存在した。全体に対する割合は、承認されたもの（Approved）が8.0%、Phase 3が1.7%、Phase 2が4.5%、Phase 1が4.6%、Preclinical が5.6%、Discontinued が75.6%であった(図1)。

図1 現在の開発ステージ別品目数（自社オリジン）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）

※図中の数値は、全体に占める割合（開発品目数）を示す

Phase 3～Preclinicalにある品目は現在開発中であり、将来的に承認されるか開発中止されるか、現時点で判断つかないため、これらを除いた品目を母数として割合を算出すると、Approved が9.6%、Discontinued が90.4%という結果であった。

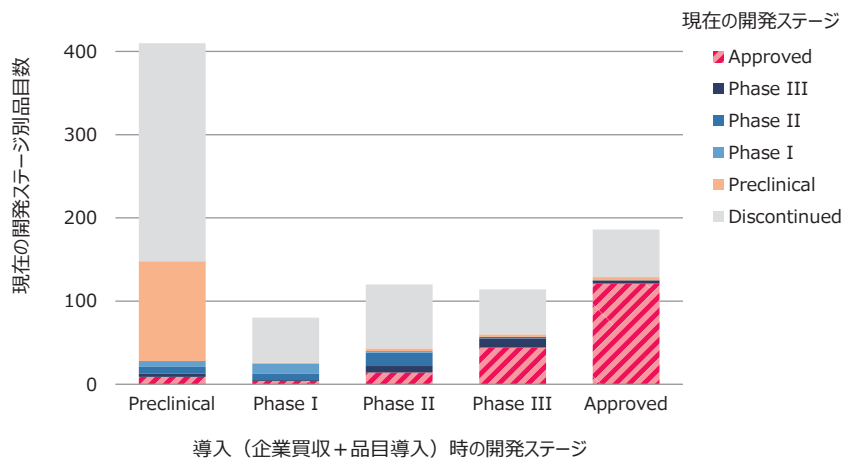
ただし、2010年以降にパイプライン上に存在した全ての開発品には、2010年時点において後期開発段階にある品目（例えば、申請中の品目やPhase 3試験実施中の品目）も含まれているため、前述の通りに算出した承認に至る割合を、創業の成功確率と同義とみなすことは適切ではない。承認に至る割合をどのように捉えるべきかについては、考察パートにおいて詳述する。

3-2. 導入品の開発ステージ調査結果

次に、2010年以降にパイプライン上に存在した全ての開発品のうち、全ての導入品目（個別の品目導入と企業買収による品目獲得の両方を含む）に関して現在の開発ステージを調査した。導入品は全部で915品目存在し、そのうち192品目が承認に至っており、承認に至った品目数では自社オリジン品目数（91品目）を上回っていた。そしてPhase 3に28品目、Phase 2に34品目、Phase 1に22品目、Preclinical に131品目、Discontinued に508

5) 2010年以前に、企業買収によって子会社化した企業に由来する開発品に関しては、自社オリジンとしてカウントしている。また導入品に関しては、テリトリー（日本のみの開発権の導入か、グローバル開発権の導入か、など）の分類は行っていない。

図2 導入時開発ステージ別の、現在の開発ステージ別品目数（全導入品）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）
 ※導入時の開発ステージは、導出元企業における開発ステージを示す

品目存在した。全体に対する Approved の割合は 21.0% という結果であった。

ただし、導入品に関しては、海外で承認済みの医薬品を獲得する場合もあれば、Preclinical 段階のような早期段階のシーズを獲得して開発を進める場合もあるため、これらを一括りにして承認に至る割合を算出することは適当ではない。そのため、導入時の開発ステージ別に分類して、現在の開発ステージを調査した（図2）。

導入品の中で、最も多いのが Preclinical 段階での導入（410品目）であり、次いで多いのが承認済みの品目（186品目）であった。Preclinical 段階で導入した410品目のうち、承認に至ったのは9品目であり、開発中止したものが262品目、現在開発中のものが139品目存在した。

承認済みの医薬品を導入した場合には、販売権を承継する場合と、特定の国で承認済みの医薬品の他国での開発権を取得し開発を進める場合（例：海外で承認済みの医薬品の日本国内での開発権を取得し、日本で開発を進め承認を目指す場合など）が含まれる。そして、上記いずれの場合であっても、市場環境の変化などによって、承認済みの医薬品であっても開発中止する（市場撤退する）場合がある。このため186品目の承認済みの医薬品導入のうち、品目を獲得した企業が承認を取得した医薬品は121品目に留まっている。

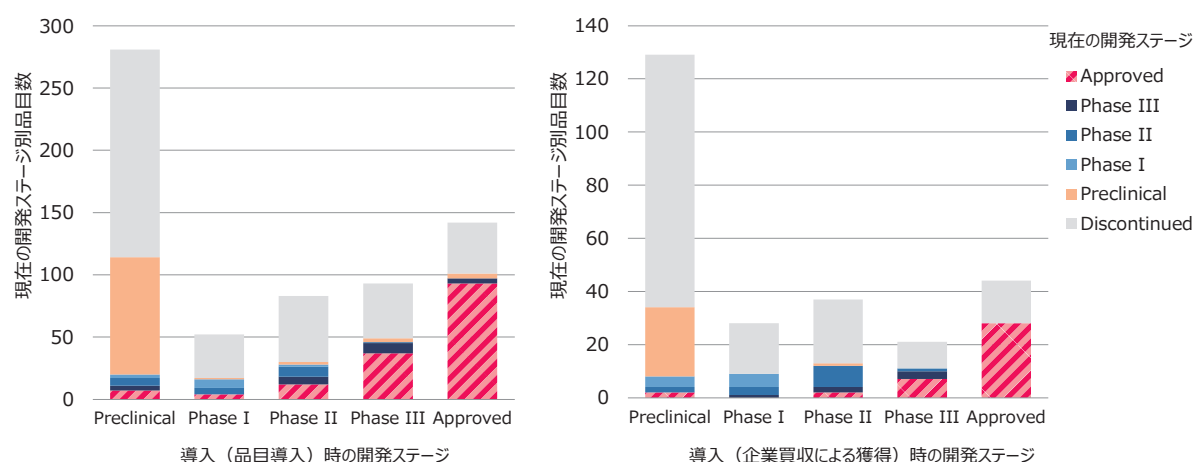
導入品目を個別の品目導入と企業買収による品

目獲得に分類し、導入時の開発ステージ別の現在の開発ステージを図3に示した。品目導入は全652品目、企業買収による品目獲得は全263品目存在していた。いずれも Preclinical 段階での導入が最も多く、次いで多いのが承認済みの医薬品であった。Preclinical 段階で導入したもののうち、品目導入では7品目、企業買収による品目獲得では2品目が承認に至っている。

図2で示した、導入時の開発ステージ別の現在の開発ステージを、導入の開発ステージ毎に全体を100%として現在の開発ステージ割合を図4に示した。その結果、導入時の開発ステージが早期であればあるほど承認に至った割合が下がることが確認できた。導入時の開発ステージ別に承認に至った割合を算出すると、Approved 段階で65.1%、Phase 3で38.6%、Phase 2で11.7%、Phase 1で5.0%、Preclinicalで2.2%という結果であった。なお、現在は未だ開発中である品目を除いて、導入時の開発ステージ別に承認に至った割合を算出すると、Approved 段階で68.0%、Phase 3で44.9%、Phase 2で15.4%、Phase 1で6.9%、Preclinicalで3.3%という結果であった。

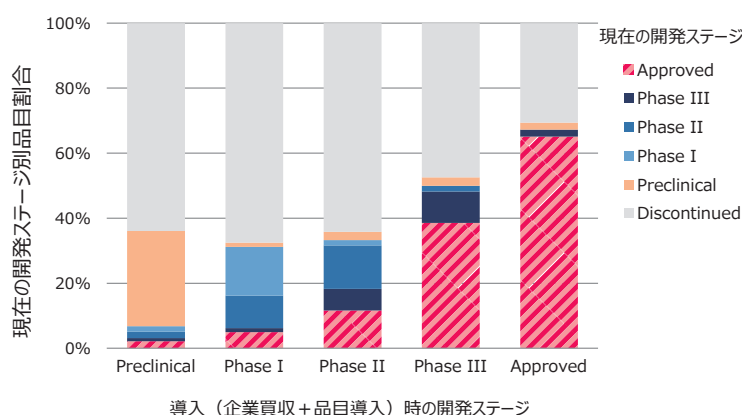
図1に示したように、自社オリジン品目では8.0%（開発段階のものを除くと9.6%）の割合で承認に至っており、一方 Phase 1段階で導入した場合の承認に至る割合は5.0%（開発段階のものを除くと6.9%）に留まっていた。自社オリジン品の方が

図3 導入時開発ステージ別の、現在の開発ステージ別品目数（品目導入と企業買収による獲得を区別）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）
 ※導入時の開発ステージは、導出元企業における開発ステージを示す

図4 導入時開発ステージ別の、現在の開発ステージ別品目割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）
 ※導入時の開発ステージは、導出元企業における開発ステージを示す

効率よく承認まで至っているように見える結果であるが、この解釈には留意が必要である。詳細は考察パートで言及するが、自社オリジン品では2010年時点において後期開発フェイズにある品目が存在することで割合を高く押し上げていることや、自社オリジン品と導入品では開発を継続するか断念するか判断基準が異なっている可能性もあり⁶⁾、直接比較することは好ましくないだろう。

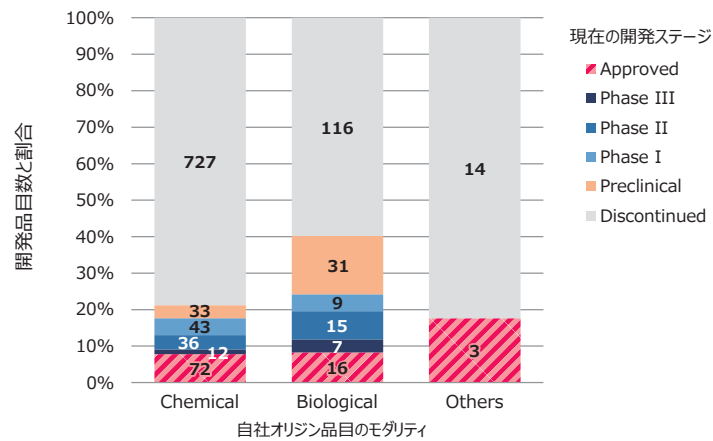
3-3. モダリティ別の開発ステージ調査結果

2010年以降にパイプライン上に存在した開発品

について、モダリティ別に分離して現在の開発ステージの分析を行った。モダリティについては、化学合成品（Chemical）、バイオ医薬品（Biological）、その他（Others）の3群に分類した。Chemicalの大部分は低分子化合物であるが、化学合成によって製造される核酸医薬品も一部含まれる。Biologicalには組み換えタンパク、抗体医薬、細胞治療、遺伝子治療などが含まれる。Othersには、天然物や診断薬等が含まれている。自社オリジン品目については図5に、導入品については図6及び図7に結果を示した。

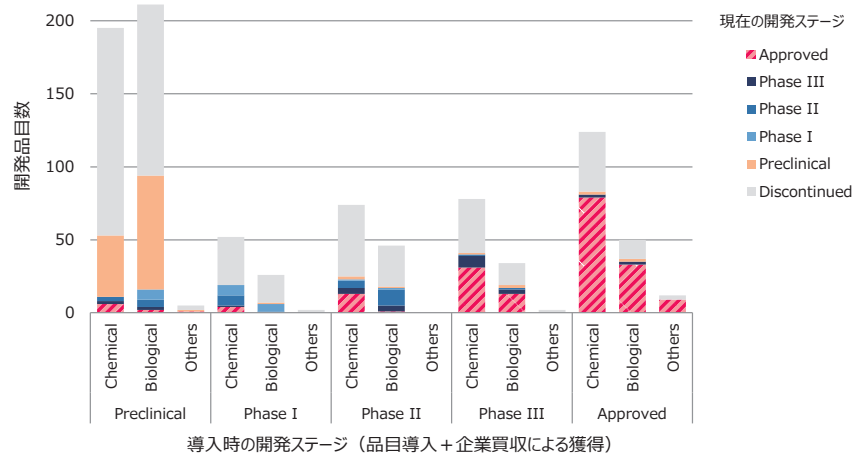
6) 導入品の場合には、ライセンス契約の内容によっては自社品以上に事業価値が低下する場合があります。また企業買収によって獲得した品目の一部では品目整理が行われて開発中止を決断する場合などもある。

図5 自社オリジン品の現在の開発ステージ（モダリティ別）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）

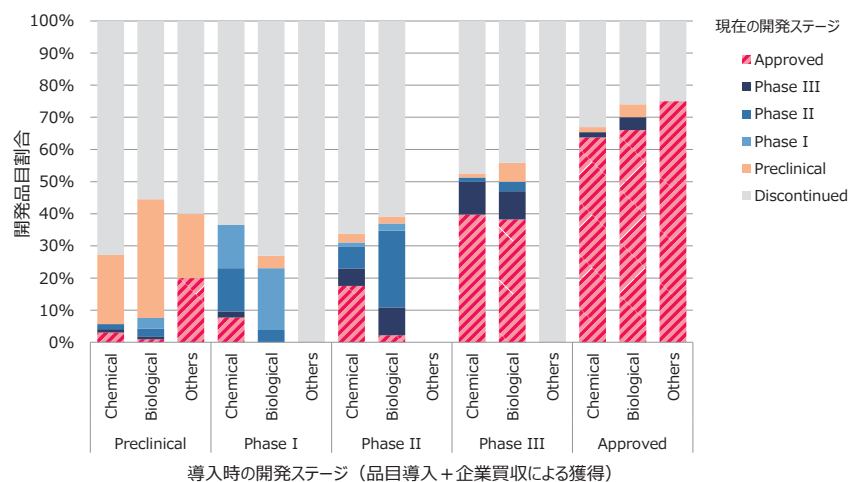
図6 導入品の現在の開発ステージ別品目数（モダリティ別）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）

※導入時の開発ステージは、導出元企業における開発ステージを示す

図7 導入品の現在の開発ステージ別品目割合（モダリティ別）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成（2023年4月作成）

※導入時の開発ステージは、導出元企業における開発ステージを示す

自社オリジン品は全1,134品目存在し、Chemical が923品目、Biological が194品目、Others が17品目であった。それらのうち承認に至ったのは、Chemical が72品目、Biological が16品目、Others が3品目であり、モダリティ毎に承認に至った割合を算出すると、それぞれ7.8%、8.2%、17.6%であった。未だ開発段階にある品目を除いて承認に至った割合を算出した場合には、それぞれ9.0%、12.1%、17.6%であった。

導入品は全915品目存在し、Chemical が524品目、Biological が370品目、Others が21品目であった。それらのうち承認に至ったのは、Chemical が133品目、Biological が49品目、Others が10品目であった。自社オリジン品では Biological が全体の約17% (194/1,134) であったのに対し、導入品では約40% (370/915) と大きな差が認められた。

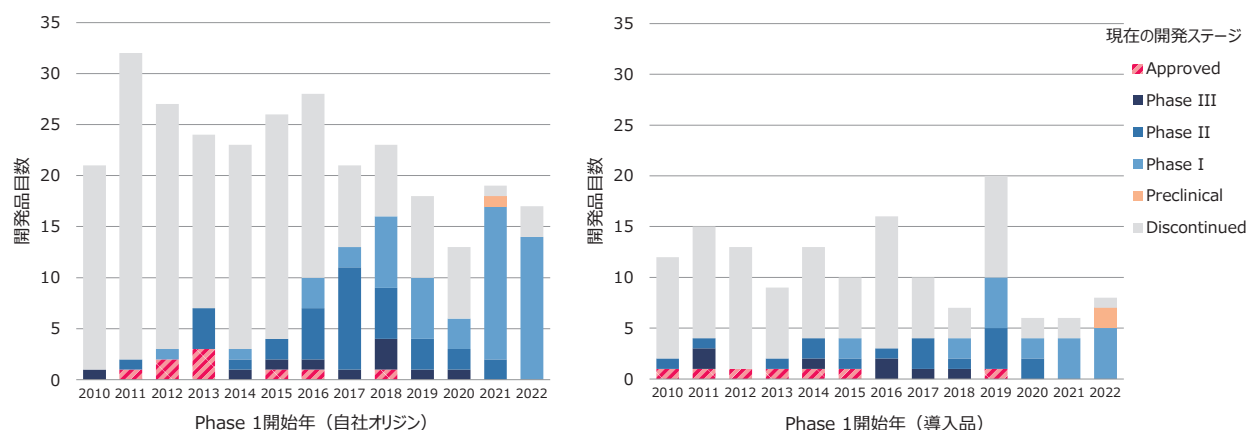
図7に示した導入品の現在の開発ステージ別品目割合を Chemical と Biological で比較すると、Approved段階で63.7%及び66.0%、Phase 3で39.7%及び38.2%、Phase 2で17.6%及び2.2%、Phase 1で7.7%及び0%、Preclinicalで3.1%及び0.9%という結果であった。

現在開発中にある品目を除いて算出した場合には、Approved 段階で65.8%及び71.7%、Phase 3で45.6%及び46.4%、Phase 2で21.0%及び3.4%、Phase 1で10.8%及び0%、Preclinicalで4.1%及び1.7%という結果であった。

3-4. Phase 1開始年別の開発ステージ調査結果

ここまで2010年以降のパイプライン全てに焦点を当て、自社オリジン品と導入品を比較しながら、承認に至った品目数や承認に至った割合について分析を行ってきた。次に、2010年以降をひとまとめにするのではなく、年次毎の動的变化を分析する目的で、Phase 1開始年毎にPhase 1を開始した品目の現在の開発ステージを示した(図8)。自社オリジン品と導入品を対等な条件で比較できるようにするため、導入品に関しては Phase 1段階以前に導入したものに限定して調査対象とした。その結果、自社オリジン品と導入品ともに、2010年以降に Phase 1を開始した品目から承認に至ったプロダクトが複数存在していた。2017年以降に Phase 1を開始した品目の中で、自社オリジン品と導入品ともに承認に至った例は僅か1品目しか存在していないが、近年 Phase 1を開始した品目では現在進行形で開発中の品目が多いため、近年になって承認に至る実例が減少しているわけではない点に留意すべきである。2010年以降に Phase 1を開始した自社オリジン品での承認品目数は9品目であり、図1で示した自社オリジン品で承認に至った例が91品目あるという結果とは大きな乖離が存在するが、この乖離は2010年以前に Phase 1を開始した品目が25品目存在することや、配合剤の開発時などで開発後期段階のフェイズから開始した事例があること、その他として Phase 1開始

図8 Phase 1開始年別、現在の開発ステージ (自社オリジン、導入品)



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成 (2023年4月作成)

※導入品に関しては、PreclinicalもしくはPhase 1段階で導入したものに限定して集計している

※Phase 1開始時期が公表されていない品目は集計対象外としている

時期が明確でない品目や2010年以前に企業買収によって獲得した品目⁵⁾が存在することなどに基づいている。

4. まとめと考察

本稿では、日本の大手製薬企業9社の2010年以降のパイプラインを俯瞰し、開発品目の総数、開発品の現在の開発ステージ⁷⁾、開発品のモダリティについて、自社オリジン品と導入品を比較しながら分析した。

自社オリジン品は1,134品目存在し、そのうち91品目が承認に至っていた一方で、導入品は915品目存在し、そのうち192品目が承認に至っていた。承認に至った品目数では、自社オリジン品と導入品の割合は概ね1：2であった。自社オリジン品では、パイプラインに存在した全開発品のうち8.0%が現在承認されており、現在開発中の品目を除いて同様に承認されている割合を算出すると9.6%という結果であった。

導入品に関しては、自社オリジン品以上に承認されている品目数が多いという結果であった。この中には、導入時の開発ステージが Approved かつ、現在開発ステージも Approved であるものが121品目存在する。これらには、すでに承認済みの医薬品の販売権を承継するケースや、海外で承認済みの医薬品の国内開発権を取得し国内で開発を進めるケースなどが存在し、前者の例としてはルリオクトコグアルファベゴル（アディオベイト[®]）やフィルゴチニブマレイン酸塩（ジセレカ[®]）など、後者の例としてはカボザンチニブリンゴ酸塩（カボメティクス[®]）やイバブラジン塩酸塩（コララン[®]）などが存在する。このいずれのケースにおいても共通することは、製薬企業は自社オリジン品だけでなく導入品も含めて多くの価値ある医薬品を、その薬を必要とする患者さんの元へ届ける役割を担っているということである。この点において、自社オリジンの研究開発の推進と同時に、導入品も取り扱い市場に届けるという企業活動は、患者さん視点で考えた場合の製薬企業の重要

な役割と言えるだろう。

導入品を、個別の品目導入によって獲得した品目と、企業買収によって獲得した品目に分解して分析した結果、どちらの場合においても Preclinical段階の品目を導入した例が最も多く、次いで多いのが承認済みの医薬品であった。このことから、開発早期段階の将来性ある品目を獲得する目的と、近い将来に自社の製品ラインナップに高確率で加わり収益化の期待できる品目を獲得する目的、この両方の意図で導入活動を行っていることが窺える。図4からも明らかなように、開発早期段階で導入した品目ほど承認に至る割合は低く、開発後期段階で導入した品目ほど承認に至る割合は高い。製薬企業としては、自社オリジン品の研究開発と同時に、リスクの高い開発早期段階の導入品やリスクの低い開発後期段階の導入品を組み合わせポートフォリオを構築し、経営上のリスクを回避／分散させていると考えられる。

また、モダリティが多様化しつつある現在では、新規モダリティに基づく開発品を導入することでその開発経験を通して新しい技術基盤を獲得するという点において、企業にとってプラスの波及効果を与えていることも想像に難くない。このように考えると、企業視点で考えた場合にも、導入品を取り扱うことの重要性を再確認することが出来る。近年の創薬エコシステムの発展により、創薬シーズを創出するスタートアップの存在感が拡大する中で、一定の企業規模を持つ製薬企業が創薬シーズ実用化における後期フェイズを担うという産業内の分業の進展は、必然的・合理的な流れという見方も出来るだろう。なお、Preclinical 段階の導入品の場合、承認に至った割合は2.2%（開発段階のものを除くと3.3%）に過ぎないが、タゼメトスタット臭化水素酸塩（タズベリク[®]）、エサキセレノン（ミネプロ[®]）など9品目が承認に至っており、また現在開発後期段階に複数品目存在していることから、今後さらに承認に至る例が増えてくるのではないだろうか。なお、本稿での分析では、品目導入した場合の権利獲得した事業テリト

7) 現在の開発ステージは、方法の項で記した理由から、2022年5月時点の開発ステージとなっている。

リーまで評価出来ていない点に留意する必要がある。国内開発権のみの導入か、グローバル開発権の導入かでは、導入品目数の差異や導入後の経緯の差異など大きく異なっている可能性があり、この点については今後の研究課題であると考ええる。

モダリティ別に上市に至る割合を分析した結果、自社オリジン品では Chemical で7.8%、Biologicalで8.2%であり、開発段階のものを除いて算出すると Chemical で9.0%、Biological で12.1%であった。ChemicalとBiologicalで比較した場合に、やや Biologicalの方が承認に至る割合が高い結果であった。導入品では、導入時の開発ステージによって異なるものの、承認済みの医薬品やPhase 3段階の開発品を獲得した場合には、承認に至る割合は同程度という結果であった。一方で、Phase 2段階やPhase 1段階で導入した場合には、Biologicalの方が承認に至った品目数が少なく、割合も低いという結果であった。しかし、特にPhase 2段階で導入した開発品においてはBiologicalにおいて開発後期段階にあるものが多く存在していることから、この中から今後承認に至る事例が出て来ることを期待したい。

Phase 1開始年別に自社オリジン品と導入品の現在の開発ステージを分析した結果、どちらからも2010～2015年頃にPhase 1を開始した中から、複数品目が承認に至っていることが確認できた。2017年以降にPhase 1を開始した品目においては、まだその多くが臨床開発段階にあるために承認まで至っている事例は多くないものの、今後承認に至る事例が出て来るものと思われる。自社オリジン品では、調査対象期間内で最も承認に至った数が多かったのが2013年にPhase 1を開始した品目で計3品目であったが、調査対象期間以前に遡って分析すると、2009年にPhase 1を開始した品目からは5品目が承認に至っている。

図1～図3で示したそれぞれの開発品数の全体像と、図8で示したように分析対象期間内にPhase 1を開始した品目に限定して分析した結果を表1としてまとめた。2010年以降のパイプラインを対象に分析した結果では、自社オリジン品では9.6%が承認に至り、品目導入では31.0%、企業買収による獲得では18.8%が承認に至っていた。ただし、導入品には承認までの道筋が見えた開発後期段階の品目も含まれていることから、自社オリジン品と導入品を対等な条件で比較する目的で、分析対象期間内にPhase 1を開始した品目に限定すると、自社オリジン品では4.6%が承認に至り、品目導入では9.1%、企業買収による獲得では4.5%が承認に至っていた。この割合の高低について、最後に考察を行う。

Phase 1を開始された品目が承認に至る割合については、政策研ニュース No.66において、本稿とは異なるアプローチによって分析を行っている⁸⁾。また政策研ニュースNo.66では、創薬の成功確率に関する包括的な先行研究として、医薬産業政策研究所の元主任研究員である八木らによる報告⁹⁾、DiMasiらの報告¹⁰⁾、Paulらの報告¹¹⁾を紹介している。これらの論文では、Phase 1開始後に承認に至る割合を、それぞれ13%、11%、12%、12%と報告している。これらを勘案すると、今回の調査で得られた承認に至る割合は一見低いように見える。しかし、2022年5月時点では未だ開発中で後期開発ステージにある品目が多く存在している点を考慮して分析することが必要である。先行研究では、Phase 3段階の品目は約50%、Phase 2段階の品目では約20%、Phase 1段階の品目では10%強が承認に至ることを報告している⁸⁾。このことを鑑みて、開発中の品目には現在の開発ステージ毎にこの確率を乗じて承認に至る薬物数を推定し、最終的に承認に至る品目割合を推定すると、

8) 医薬産業政策研究所、「創薬の成功確率分析 ―臨床試験に焦点を当てて―」、政策研ニュース No.66 (2022年7月)

9) 医薬産業政策研究所、「医薬品開発の期間と費用 - アンケートによる実態調査 -」、リサーチペーパー・シリーズ No.59 (2013年7月)

10) Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs. DiMasi JA, Grabowski HG, Hansen RW. J Health Econ. 2016 May; 47: 20-33.

11) How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. Paul SM, Mytelka DS, Dunwiddie CT, Persinger CC, Munos BH, Lindborg SR, Schacht AL. Nat Rev Drug Discov. 2010 Mar; 9 (3): 203-14.

表1 パイプラインに占める自社オリジン品と導入品の品目数と承認品目割合

	自社オリジン品	導入品	
		品目導入	企業買収による獲得
承認数	91	153	39
(Phase 1開始品) * ¹	(9)	(5)	(2)
開発中止数	857	340	168
(Phase 1開始品) * ¹	(185)	(50)	(42)
開発中品目数	186	159	56
(Phase 1開始品) * ¹	(98)	(25)	(21)
承認品目割合* ²	0.096	0.310	0.188
(Phase 1開始品) * ¹	(0.046)	(0.091)	(0.045)

* 1：2010年以降に Phase 1を開始した品目に限定して集計した結果

* 2：現在開発中の品目を除いて算出した割合であり、(承認数) ÷ (承認数 + 開発中止数) によって算出している

自社オリジン品では約9.0%が承認に至ることとなり、先行研究の数値に比べるとやや低いながらも大きな違いはない数値であると考えられた。本推計は多くの仮定のもとに行っているものであり、一層精密な分析を行うためには今後継続的に同様の調査研究を行っていくことが重要になるだろう。

5. あとがき

日本の大手製薬企業9社の2010年以降のパイプラインをした結果、自社オリジン品と導入品を組み合わせて自社パイプラインを充実させ、日本や世界の患者に新薬を届けている状況が確認出来た。自社オリジン品では、他社へのライセンス費用等が発生しないため、高い利益率が期待出来る点に大きなメリットがある。また研究開発を内製

化することにより、創薬の目利き力を高めることにもつながり、良い導入品を獲得する上でもプラスの効果を産むかもしれない。しかし、ゼロから着手する自社オリジン品の研究開発では、長い研究開発期間を必要とするだけでなく、高い開発中止リスクが伴うため、これだけでは企業経営に不安定性が生じる。これをカバーするために、開発中止リスクは高いものの比較的安価で獲得可能な早期段階の導入品や、開発中止リスクは比較的低いものの相対的に高い費用を要する後期段階の導入品を獲得することによって、適切なポートフォリオを構築して安定的に新薬を創出出来るように努めていると考えられる。自社オリジン品と導入品それぞれにバランスよくリソースを割いて開発を進めることによって、病気で苦しむ世界の患者さんに新薬を届ける役割を担っているのだろう。

医療費の節約に関する国民の意識と行動

—医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その④—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉田晃子

1. はじめに

著者は、2022年6月に、医薬品の価格や制度（受診時医療、医薬品に係る薬価や医療保険制度等）、価値に関する意識や興味関心の実態を様々な属性ごとに把握する目的で、Webアンケート調査「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」（以下、「本調査」と記載）を実施した。

本調査の結果報告その1として、国民の医薬品の価格や制度への意識や興味関心は、概ね7割と高いこと、意識や興味関心の高い層の特徴として、受療機会等の医療への関りが大きい傾向がある一方で、医療への関りが大きくない者（自覚健康度が高い者）もいること等を示した。続いてその2として、国民が重視する医薬品の価値について、医療的視点に基づく「医療的価値」に留まらず、医薬品による治療等の波及効果として実現する「医療的な価値以外の価値」についても認識、重視している人がいること、自身や周囲の置かれた状況等（疾患の有無、疾患の種類、受診疾患や仕事、家事、介護等）により重視する価値に違いがあること等を示した。その3として、医薬品の価格や制度、価値について、知ることへの国民の期待があること、期待する内容からは、自身の意識や興

味、関心が高まることに加え、医薬品の適正使用や、医師や薬剤師への相談といった、医療に直面した際の行動も変化する期待があること、望ましいと考える手段や機会や時期については属性による違いがあること等を示した。それぞれ、政策研ニュース No.67及び No.68¹⁾ で報告した。

本稿では、本調査の結果報告その4として、医療費の節約に関する国民の意識と行動について述べる。医療費の節約とは、個人だけでなく社会的な影響を含むものである。

高齢者の医療の確保に関する法律（昭和57年法律第80号）²⁾ では、制度の持続可能な運営を確保するため、国と都道府県が保険者・医療関係者等の協力を得て、住民の健康増進や医療費の適正化を進めるため、6年を1期として、国において医療費適正化基本方針を定めるとともに、都道府県において医療費適正化計画³⁾ を定め、目標の達成に向けて、取り組みを進めることとしている。⁴⁾ 2023年度は、第三期医療費適正化計画の最終年度にあたる。外来医療費では、糖尿病の重症化予防で約800億円、特定健診・保健指導の推進で約200億円、後発医薬品の使用促進（80%目標）で約4,000億円、医薬品の適正使用で約600億円と医療費適正

1) 医薬産業政策研究所、「医薬品の価格や制度への国民の意識・興味関心—医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その①—」、政策研ニュース No.67（2022年11月）、「国民が重視する医薬品の価値—医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その②—」、「医薬品の価格や制度、価値について知ることへの国民の期待、望ましいと考える手段、機会や時期—医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その③—」、政策研ニュース No.68（2023年3月）

2) E-GOV 法令検索、<https://elaws.e-gov.go.jp/document?lawid=357AC0000000080>（参照：2023/6/1）

3) 厚生労働省、「第三期医療費適正化計画（2018～2023年度）について」、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000190705.html>、（参照：2023/6/1）

4) 厚生労働省、医療費適正化計画について、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000190656.html>、（参照：2023/6/1）

化の効果を織り込んで推計され、2023年度に6,000億円程度の適正化効果額が見込まれている。

そうした背景より、国の方針である「経済財政運営と改革の基本方針2022」(以下、骨太の方針)⁵⁾への記載をはじめ、健康増進や医療費の適正化に関する様々な取り組みの推進、国民への啓発が、製薬産業等⁶⁾ 各所で行われてきている。

そこで、健康増進や医療費の適正化に関する国民に向けた様々な取り組みや啓発事項を参考に、国民個人の医療費の節約に関する意識と行動の実態を把握するため、分析を行った。

2. 調査・分析方法

〈調査方法〉

Web アンケート調査は、以下の方法で実施した。なお、回答者がインターネットを使用できる

人に限定される等、調査の特性として限界があることを事前に提示しておく。

- ①調査地域：全国47都道府県
 - ②対象：20歳以上の男女
 - ③回答者数：2,118人
 - ④抽出方法：インターネット調査用パネルより層別無作為抽出
 - ⑤調査方法：インターネット調査
 - ⑥調査期間：2022年6月20日～22日
 - ⑦調査機関：株式会社インテージヘルスケア
- ※調査サンプル（地域、年齢、性別）は、全国の人口構成比にできる限り合わせて、回収した。
- 〈分析方法〉
- クロス集計並びに、線形確率モデルによる多重回帰分析を用いている。

図1 第1期～第3期医療費適正化計画の目標（国が告示で示しているもの）

	第1期（H20～24）	第2期（H25～H29）	第3期（H30～R5）
住民の健康の保持の推進に関し、達成すべき目標に関する事項（第8条第4項第1号、第9条第3項第1号）	・特定健康診査の実施率 ・特定保健指導の実施率 ・メタボリックシンドロームの該当者および予備軍の減少率	・特定健康診査の実施率 ・特定保健指導の実施率 ・メタボリックシンドロームの該当者および予備軍の減少率 ・たばこ対策	・特定健康診査の実施率 ・特定保健指導の実施率 ・メタボリックシンドロームの該当者および予備軍の減少率 ・たばこ対策 ・予防接種 ・生活習慣病等の重症化予防の推進 ・その他予防・健康づくりの推進
医療の効率的な提供の推進に関し、達すべき目標に関する事項（第8条第4項第2号、第9条第3項第2号）	・療養病床の病床数 ※第1期期間中に行わないこととした ・平均在院日数	・平均在院日数の短縮 ・後発医薬品の使用促進	・後発医薬品の使用割合 ・医薬品の適正使用

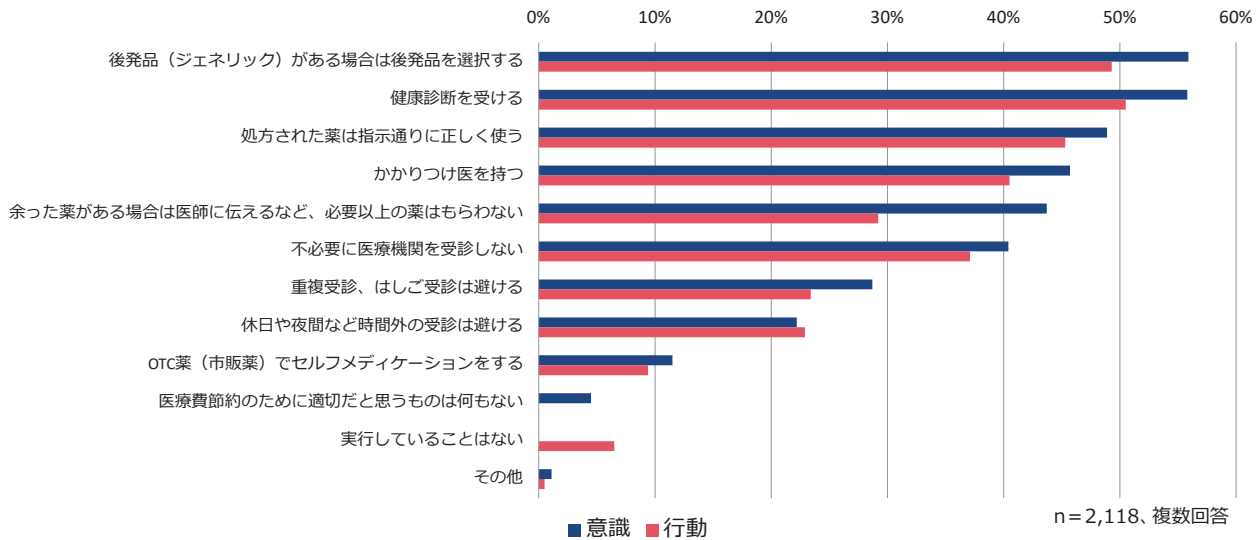
出所：第144回社会保障審議会医療保険部会資料を基に医薬産業政策研究所にて作成

5) 経済財政運営と改革の基本方針2022には、「医療・介護費の適正化を進める」観点で、「セルフメディケーションの推進」や「ヘルスリテラシーの向上」に取り組むこと、「リハビリテーションを含め予防・重症化予防・健康づくり」を推進すること等、国民の健康増進や医療費の適正化を進めることが記載される。

6) 厚生労働省では、WEBサイト「上手な医療のかかり方.jp」にて、上手な医療のかかり方に関する情報を発信。製薬協、産業政策委員会では「医薬品の適正使用」に関するWEBサイトにて、「ポリファーマシーに関する社員研修用資材」や「ポリファーマシーに関する一般向け国民啓発資材」の作成・掲載、製薬協メディアフォーラムなどを通じて「医薬品の適正使用」などの情報を発信。一般社団法人くすりの適正使用推進協議会でも、誰もが健康な生活を実現するため、信頼できる情報をもとに判断し、行動できる社会を目指して活動・発信。

図2 医療費の節約に関する意識と行動

「医療費を節約するために適切だと思うもの（ご自身が実行しているかどうかは問わず）」と「あなたご自身が実際に実行していること」を尋ね、9個の選択肢と「思うものは何もない」／「実行していることはない」、「その他」から回答（複数回答）を得た。



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

3. 回答者の属性

回答者の属性に関わる主な情報を末尾に付表する。

4. 調査・分析結果

4.1. 医療費の節約に関する意識と行動の特徴

まず、医療費の節約に関する回答者自身の意識と行動の実態を把握するため、「医療費を節約するために適切だと思うもの（ご自身が実行しているかどうかは問わず）」（意識）と「あなたご自身が実際に実行していること」（行動）を尋ね、9個の選択肢と「思うものは何もない」／「実行していることはない」、「その他」より回答（複数回答）を得た。なお、9個の選択肢については、「医療費適正化計画の目標」（図1）や「骨太の方針」、「上手な医療のかかり方プロジェクト」⁷⁾、製薬協のWEBサイト「医薬品の適正使用の推進（産業政策委員会）」⁸⁾に記載されている事項等を踏まえて設定した。その結果を、意識と行動の別に回答割合が高い順に並べて示す。（図2）

まず、医療費の節約に関する意識の回答割合が高い順では、「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」（55.9%）、「健康診断を受ける」（55.8%）、「処方された薬は指示通りに正しく使う」（48.9%）、「かかりつけ医を持つ」（45.7%）、「余った薬がある場合は医師に伝えるなど、必要以上の薬はもらわない」（43.7%）、「不必要に医療機関を受診しない」（40.4%）、「重複受診、はしご受診は避ける」（28.7%）、「休日や夜間など時間外の受診は避ける」（22.2%）、「OTC薬（市販薬）でセルフメディケーションをする」（11.5%）「医療費の節約のために適切だと思うものは何もない」（4.5%）、「その他」（1.1%）と続いていた。「その他」では、自らの「睡眠、栄養や運動などの健康管理」、「予防意識」等が挙げられた。

続いて、医療費の節約に関する行動の回答割合が高い順では、「健康診断を受ける」（50.5%）、「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」（49.3%）、「処方された薬は指示通りに正しく使う」（45.3%）、「かかりつけ医を持つ」（40.5%）

7) 厚生労働省、「上手な医療のかかり方プロジェクト」、<https://kakarikata.mhlw.go.jp/>、（参照：2023/6/1）

8) 産業政策委員会、「医薬品の適正使用」、日本製薬工業協会、https://www.jpma.or.jp/information/industrial_policy/proper_use/index.html（参照：2023/6/1）

%)、「不必要に医療機関を受診しない」(37.1%)、「余った薬がある場合は医師に伝えるなど、必要以上の薬はもらわない」(29.2%)、「重複受診、はしご受診は避ける」(23.4%)、「休日や夜間など時間外の受診は避ける」(22.9%)、「OTC薬（市販薬）でセルフメディケーションをする」(9.4%)、「実行していることはない」(6.5%)、「その他」(0.5%)と続いていた。「その他」では、自らの「睡眠、栄養や運動などの健康管理」、「薬への理解」等が挙げられていた。

共通して、「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」や、「健康診断を受ける」、「処方された薬は指示通りに正しく使う」という項目の、意識や行動が高い回答割合を示していた一方で、「OTC薬（市販薬）でセルフメディケーションをする」が10%程度と、低い回答割合を示していた。

全体としては、回答割合が、回答者の半分（50%）を超えていた項目は、意識で2項目、行動で

1項目（下線有）となっており、殆どの項目で回答割合は50%を超えておらず、医療費の節約の意識や行動の多くが十分にはとられていないことが示された。

4.2. 医療費の節約に関する意識、行動の属性区分別の特徴

医療費の節約に関する意識や行動をとる回答者の特徴を調べるため、各属性区分（これまでの分析で用いているもの）との関係性を分析した。（表1）それぞれの意識・行動項目を被説明変数とし、選択回答した場合に1をとり、そうでない場合に0、属性区分を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析により、統計学的に有意であった属性の特徴の結果を、意識と行動別に、表2と表3に示す。

主な特徴として、医療費の節約に関する意識や行動の選択確率が高い属性は、「女性」、「無職者」、「受診疾患有」、「医療費負担額大」と回答した属性

表1 属性と属性の区分

属性	属性の区分	回答者（数、全体に対する割合）
性	・男 ・女	男：1,016人、48.0% 女：1,102人、52.0%
年代	・低年代（20代～40代） ・高年代（50代以上）	低年代：868人、41.0% 高年代：1,250人、59.0%
職業	・有職者 ・無職者 ・その他	有職者：1,248人、58.9% 無職者：844人、39.8% その他：26人、1.2%
最終学歴	・中・高／専門・高専・短大卒（低） ・ <u>大学卒業／大学院修了（高）</u> ・その他 ・答えたくない	低：1,315人、62.1% 高：734人、34.7% その他：6人、0.3% 答えたくない：63人、3.0%
世帯年収	・600万円未満（低） ・ <u>600万円以上（高）</u> ・分からない／答えたくない	低：1,007人、47.5% 高：437人、20.6% 分からない／答えたくない：674人、31.8%
介護の必要な家族	・有 ・無	有：364人、17.2% 無：1,754人、82.8%
現在の受診・疾患	・有 ・無	有：1,173人、55.4% 無：945人、44.6%
医療費負担額	・5万円未満（小） ・ <u>5万円以上（大）</u>	小：1,440人、68.0% 大：678人、32.0%
医療費負担感	・感じていない（小） ・ <u>感じている（大）</u>	小：749人、35.4% 大：1,369人、64.6%
自覚健康度 （現在の健康状態）	・ <u>健康（高）</u> ・健康ではない（低）	高：1,625人、76.7% 低：493人、23.3%

注1：推定モデルにおけるそれぞれの説明変数であるダミー変数(1)に下線を引いている

注2：職業「その他」は0、最終学歴「その他」は0、「答えたくない」は欠測値、世帯年収「分からない／答えたくない」は欠測値とした

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表2 医療費の節約に関する意識：属性区分別

n=1,430

意識	属性区分									
	性	年代	職業	最終学歴	世帯年収	介護の必要な家族	受診疾患	医療費負担額	医療費負担感	自覚健康度
後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する			無				有			高
			8.0%				12.4%			9.2%
健康診断を受ける					低		有	大	小	高
					5.8%		9.2%	8.0%	4.7%	8.4%
処方された薬は指示通りに正しく使う	女性		無				有			高
	11.4%		7.1%				14.0%			7.2%
かかりつけ医を持つ	女性				低		有	大		
	5.5%				10.0%		16.9%	7.4%		
余った薬がある場合は医師に伝えるなど、必要以上の薬はもらわない	女性		無				有	小		
	19.5%		10.1%				11.8%	4.9%		
不必要に医療機関を受診しない	女性		無					大	小	
	9.8%		13.3%					6.7%	8.1%	
重複受診、はしご受診は避ける	女性		無				有	大	小	
	4.4%		9.0%				5.4%	9.4%	7.9%	
休日や夜間など時間外の受診は避ける	女性						有			低
	12.7%						5.0%			4.7%
OTC薬（市販薬）でセルフメディケーションをする			無	高						
			3.4%	4.8%						
医療費節約のために適切だと思うものは何もない	男性	低					無	小		低
	3.4%	2.2%					5.7%	2.3%		5.5%

注1：それぞれの意識項目を被説明変数とし選択回答した場合に1をとり、そうでない場合に0、属性区分を説明変数とした、線形確率モデルによる多重回帰分析を実施

注2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内の上段に、Coef（係数）を下段に記載

注3：欠測値を有する方は解析から除外した

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表3 医療費の節約に関する行動：属性区分別

n=1,430

行動	属性区分									
	性	年代	職業	最終学歴	世帯年収	介護の必要な家族	受診疾患	医療費負担額	医療費負担感	自覚健康度
後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する	女性		無				有			高
	6.6%		6.6%				16.5%			6.8%
健康診断を受ける							有	大		高
							17.4%	8.0%		16.7%
処方された薬は指示通りに正しく使う	女性		無				有	大		高
	9.8%		8.6%				22.1%	7.7%		7.6%
かかりつけ医を持つ		低	無				有	大	小	
		5.8%	10.6%				31.9%	9.7%	4.9%	
余った薬がある場合は医師に伝えるなど、必要以上の薬はもらわない	女性		無			有	有	大		
	13.1%		8.7%			6.4%	16.4%	7.8%		
不必要に医療機関を受診しない	女性		無					小		
	9.8%		10.6%					5.0%		
重複受診、はしご受診は避ける			無				有	大	小	
			9.5%				7.5%	6.7%	6.5%	
休日や夜間など時間外の受診は避ける	女性						有	小	小	
	12.9%						8.8%	4.7%	5.5%	
OTC薬（市販薬）でセルフメディケーションをする				高				小		
				4.0%				2.8%		
実行していることはない										

注1：それぞれの行動項目を被説明変数とし選択回答した場合に1をとり、そうでない場合に0、属性区分を説明変数とした、線形確率モデルによる多重回帰分析を実施

注2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内の上段に、Coef（係数）を下段に記載

注3：欠測値を有する方は解析から除外した

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

であった。「受診疾患有」の係数が最も大きかったことから、受療機会という影響が大きいことが示唆される。

また、回答割合が高い3項目（「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」、「健康診断を受ける」、「処方された薬は指示通りに正しく使う」）では、意識、行動のいずれも、「自覚健康度高」と回答した属性で、選択確率が高かった。

4.3. 医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動の特徴

4.1で述べたように、回答者自身の、医療費の節約に関する意識と行動の実態として、医療費の節約の意識や行動の多くがとられていないことが示された。そこで、製薬産業として、今後、更なる啓発等を行うべきはどのような行動集団なのかの検討の一助となるよう、医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団の分析を行うことにした。9個の選択肢から、特に医療用医薬品の薬剤使用に関する3項目（「処方された薬は指示通りに正しく使う」、「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」、「余った薬がある場合は医師に伝えるなど、必要以上の薬はもらわない」）の行動をしていることに着目し、意識は問わず、行動しているかどうかにより3つの集団を作成した。集団は、3つすべての行動をしている行動高集団297人（14.0%）、3つのうち1～2の行動を

している行動中集団（1,214人、57.3%）、3つのうちひとつも行動をしていない行動低集団（607人、28.7%）と設定した。（図3）

各集団を被説明変数とし、属性区分を説明変数とした、線形確率モデルによる多重回帰分析により統計学的に有意であった属性の特徴の結果を、表4に示す。主な特徴として、行動高集団では、「女性」、「無職者」、「介護が必要な家族有」、「受診疾患有」、「医療費負担額大」と回答した属性で、選択確率が高かった。行動中集団では、「女性」、「高年代」、「無職者」、「介護が必要な家族無」と回答した属性で、選択確率が高かった。行動低集団では、「男性」、「有職者」、「受診疾患無」、「医療費負担額小」、「自覚健康度低」と回答した属性で、選択確率が高かった。

行動高集団では「受診疾患有」、行動低集団では「男性」、「受診疾患無」、「有職者」と回答した属性で、係数が高かったことから、これらの属性ごとの特徴が集団としての特徴に影響を与えていることが示唆される。

図4、5では、属性ごとの特徴をクロス集計し、グラフに示している。グラフでは、「男性」の割合は、行動高集団（34.3%）、行動中集団（45.4%）、行動低集団（59.8%）と、低集団ほどその割合が高くなっている。また、20～50代までの割合は、行動高集団（42.8%）、行動中集団（54.3%）、行動低集団（73.6%）と、低集団ほどその割合が高く

図3 医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団について



出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表 4 医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団：属性区分別

集団	属性区分									
	性	年代	職業	最終学歴	世帯年収	介護の 必要な家族	受診疾患	医療費 負担額	医療費 負担感	自覚健康度
行動高集団	女性		無職者			有	有	大		
	6.2%		3.8%			6.3%	12.5%	4.7%		
行動中集団	女性	高	無職者			無				
	6.4%	4.7%	4.7%			8.2%				
行動低集団	男性		有職者				無	小		低
	12.6%		8.5%				17.1%	6.1%		5.7%

注 1：集団を被説明変数とし属性区分を説明変数とした、線形確率モデルによる多重回帰分析を実施

n = 1,430

注 2：統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴として表内の上段に、Coef（係数）を下段に記載

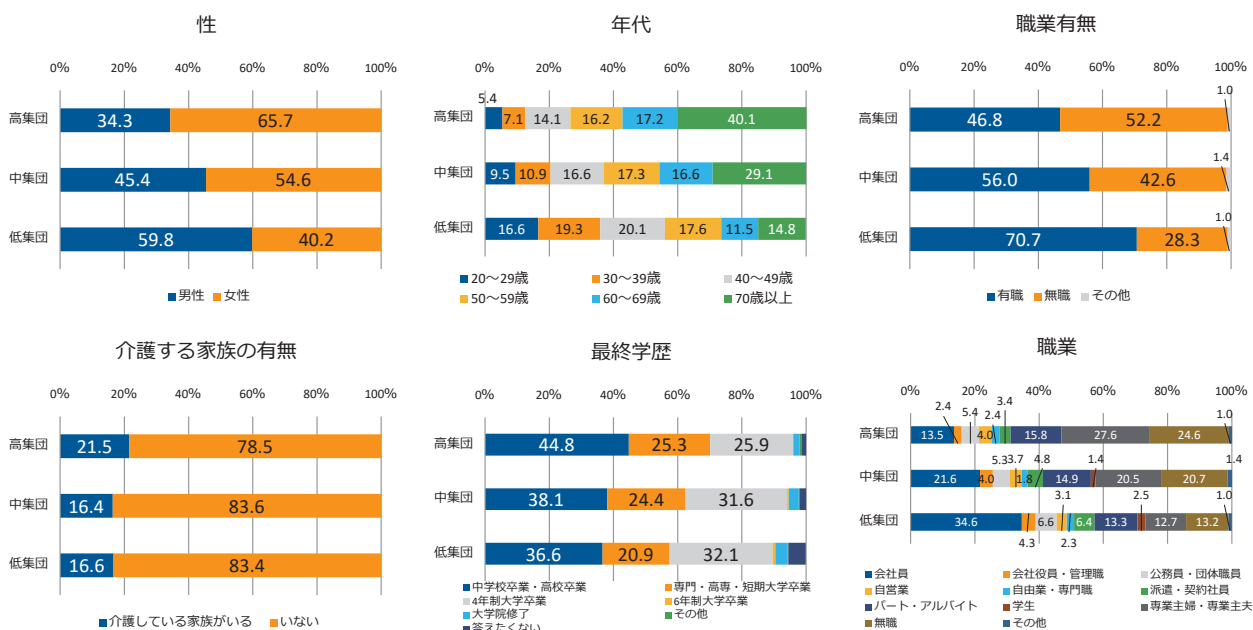
注 3：欠測値を有する方は解析から除外した

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

なっている。「有職者」の割合は、行動高集団（46.8%）、行動中集団（56.0%）、行動低集団（70.7%）と、低集団ほどその割合が高くなっている。職業の内訳をみると、パート等短時間勤務者の割合は、どの集団でもほぼ一定なのに対し、会社員等フルタイム雇用者の割合は、行動高集団（25.3%）、行動中集団（34.6%）、行動低集団（48.6%）と、低集団ほどその割合が高くなっている。また、「専業主婦／主夫」の割合は、行動高集団（27.6%）、行動中集団（20.5%）、行動低集団（12.7%）と、低集団ほどその割合が低くなっている。「受診疾患有」の割合は、行動高集団（78.8%）、行動中集団

（58.6%）、行動低集団（37.4%）と、低集団ほどその割合が低くなっている。「医療費自己負担額」0円～5万円未満の割合は、行動高集団（54.2%）、行動中集団（66.6%）、行動低集団（77.7%）と、低集団ほどその割合が高くなっている。特に、1万円未満の割合は、行動高集団（19.9%）、行動中集団（29.0%）、行動低集団（50.2%）と、低集団でその割合が高くなっている。「医療費負担感」を感じている割合は、行動高集団（68.7%）、行動中集団（66.6%）、行動低集団（58.6%）と、低集団でその割合が低くなっている。「自覚健康度」は、とても健康もしくは健康の2区分の割合に絞る

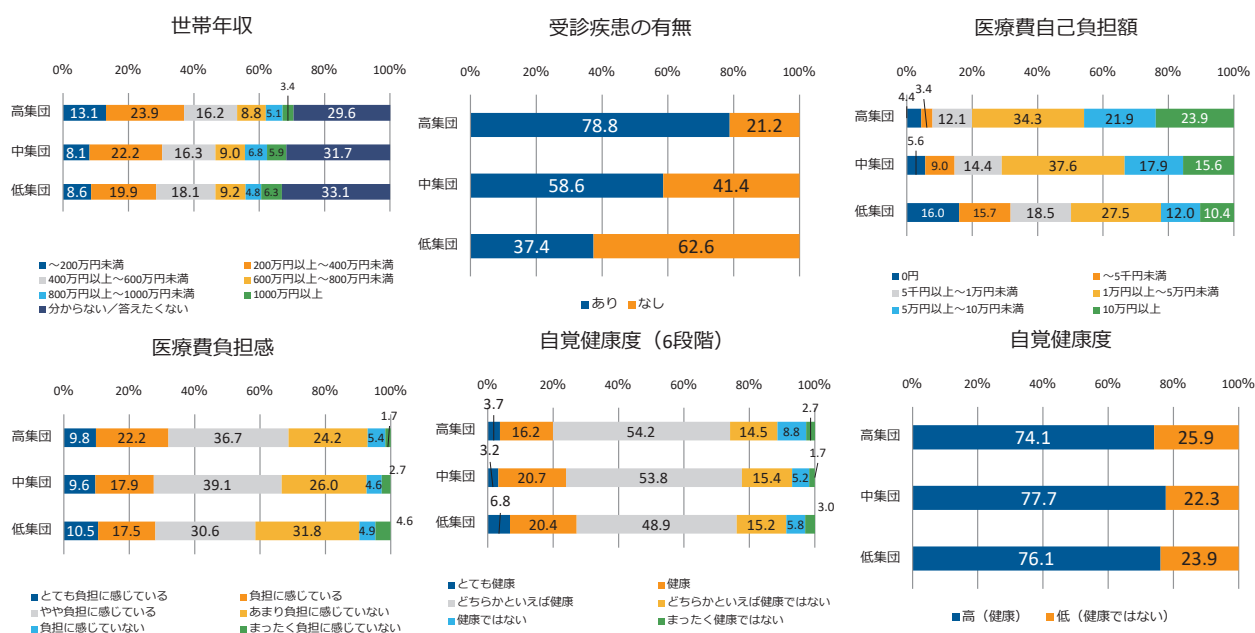
図 4 医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団：主な属性別



注 1：n は行動高集団：297、行動中集団：1,214、行動低集団：607

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図5 医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団：主な属性別



注1：nは行動高集団：297、行動中集団：1,214、行動低集団：607

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

と、行動高集団（19.9%）、行動中集団（23.9%）、行動低集団（27.2%）と、低集団ほどその割合が高くなっている。

以上の分析から、医療費の節約を意図した薬剤使用に関して、行動している集団の特徴は、「女性」、「無職者」、「介護が必要な家族有」、「受診疾患有」、「医療費負担額大」であった。つまり、「介護が必要な家族有」以外は、項目ごとにみた特徴と同じであった。反対に、行動していない集団の特徴は、「男性」、「年代」は「20～50代」、「有職者」（「専業主婦／主夫」は少なく、会社員等フルタイム雇用者が多い）、「受診疾患無」、「医療費負担額小」（特に、1万円未満の割合が高い）、「医療費負担感小」であり、行動している集団の特徴とは相反するような特徴が、明らかとなった。

5. まとめと考察

本稿では、医療費の節約に関する意識と行動について、その特徴を属性ごとに、また、医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動集団を抽出し、その特徴を分析し結果を述べてきた。

全体で、医療費の節約に関する意識や行動を項目ごとにみた属性の特徴傾向では、意識や行動が

高い属性は、受療機会のある人であった。また、回答割合が高い3項目（「後発品（ジェネリック）がある場合は後発品を選択する」、「健康診断を受ける」、「処方された薬は指示通りに正しく使う」）では、「自覚健康度高」、すなわち受診疾患によらず自身が健康であると思っている人の意識や行動が高いことがわかった。反対に、意識や行動が低いのは、受療機会のないもしくは少ない人であった。「健康診断を受ける」選択は受診や疾患が無くても実施できるはずであるが、受診や疾患があると、その選択確率は明らかに高まる。したがって、医療費の節約や健康への意識と行動を高めるひとつのきっかけとして、受療機会が機能している可能性を示唆している。受療経験により、医薬品を服用するようになったり、医療費の自己負担をすることで、個人の行動となり意識が変わる、もしくは意識が高まり行動となることが推測される。また、受療機会によらず、自身が健康であると思っている人でも意識や行動をする場合があったことから、受療機会はあるが健康意識が高い人や、受療機会はなくても日ごろから健康意識をしている人には、健康や予防への意識やヘルスリテラシー（一般に、健康に関連する情報を探し出し、

理解して、意思決定に活用し、適切な健康行動につなげる能力）を高めていく（機会やツールを提供する）ことも有用ではないか。新たに疾患を抱える前に、適切な情報や、医療費の節約に関する高い意識を持つことができれば、疾病の予防や早期発見等に期待ができ、個人や社会の医療費の節約効果を高めることが期待される。

医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動を、行動集団ごとにみた属性の特徴傾向も、医療費の節約に関する意識や行動を項目ごとに見た属性の特徴傾向と概ね類似していた。行動している集団は、無職者で、年代は高め、受診疾患や医療費の負担額が実際にある、受療機会の一定程度ある人に多かった。反対に、行動していない集団は、受診疾患がなく、受療機会も少ない労働者世代に多かった。

つまり、医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動をしない人が行動をするひとつのきっかけとしても、受療機会が機能している可能性を示唆している。受療経験により、医薬品を服用するようになったり、医療費の自己負担をすることで、個人の行動につながるのだろう。また、医療費の節約を意図した薬剤使用に関する行動をしない人の属性の特徴として、労働者（「専業主婦／主夫」は少なく、会社員等フルタイム雇用者が多い）が挙げられ、受療機会も少ない労働者は、医薬品服用の機会も少なく、行動は起きにくいと言える。このような受療機会も少ない労働者は、どうすれば意識を高められるだろうか。

一般的には多くの時間を割く働く環境の中で、自身が健康であり続けることの重要性や、健康や医療への意識を自然と高められる仕掛けを作り、個々の意識や興味関心を高めていく。そして、ま

ずは自身の医療費の負担額を知ることから、社会の医療費や薬剤費の状況、薬価を含む医療保険制度などを自然と理解できる機会（例：アプリやSNS、動画配信⁹⁾等、労働者がアクセスしたくなるような、短時間に、気軽に、平易に理解が進むもの）を提供し活用してもらうことで、自分ごとと思うことから、医療や社会への参画意識を高めることで、自身や社会の医療費や薬剤費の節約に関する意識を高めていく。受療機会のように、短期間で意識を動かすことは難しく長期間を要すると推測されるが、労働者だからこそ、個人だけでなく、社会の医療費の節約への意識も持ちやすいのではないだろうか。

将来の個人医療費支出や社会全体における医療費支出を節約する情勢の中、国民の医療費を節約する意識を高める必要があると考える。

6. おわりに

昨今、高年齢者雇用安定法の改正¹⁰⁾や人口減少に伴う労働力の低下を背景に、製薬を含め企業では、定年延長に踏み切るなど高齢者雇用制度を見直す動きが出始めている。また、2030年には、仕事をしながら家族等の介護に従事する「ビジネスケアラー」が最多となると予測される。¹¹⁾労働者自身の健康管理・増進は益々重要となる。だからこそ、受療や介護に直面する前に、国民一人一人が、個人だけでなく、社会の医療費の節約にもしっかり向き合える姿を目指すべきではないだろうか。人生100年時代、「healthy worker」の医療費の節約への意識が、少しずつ高まり行動につながる、もしくは行動が意識を変えていくことが、鍵となるだろう。

9) 「医薬品の価格や制度、価値について知ることへの国民の期待、望ましいと考える手段、機会や時期—医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その③—」、政策研ニュース No.68（2023年3月）では、「有職者」には、「ウェブサイト・アプリ」、「SNSやブログ等のコミュニティサイト」、「YouTubeなどの動画サイト」といった電子媒体が望ましいとされた。

10) 1986年に制定された高年齢者雇用安定法は社会的な背景を踏まえ改正されてきた。2012年改正では年金の支給年齢の引き上げに合わせて、65歳までの雇用確保が義務化され、定年年齢を65歳まで引き上げる、定年制の廃止、65歳までの継続雇用制度を導入—のいずれかを、各企業が経過措置期間である25年4月までに選択することになった。2020年の改正では、高年齢者の活躍の場を確保することを目的に、70歳までの高齢者に対する就業確保が努力義務となった。

11) 第13回 産業構造審議会 経済産業政策新機軸部会、「高齢化の進行に伴う介護者負担の増大」、経済産業省、https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shin_kijiku/pdf/013_03_00.pdf

付表 回答者の属性

属性		内訳(人)	割合	属性		内訳(人)	割合
性別	男性	1,016	48.0%	介護が必要な 家族の有無	自分が主に介護している家族がいる	121	5.7%
	女性	1,102	52.0%		主な介護者ではないが、同居家族に介護が必要な人がある	92	4.3%
年代	20～29歳	232	11.0%		主な介護者でもなく、同居していない家族に介護が必要な人がある、または施設にいる	151	7.1%
	30～39歳	270	12.7%		いない	1,754	82.8%
	40～49歳	366	17.3%	最近 1年間の 医療費 負担額	0円	178	8.4%
	50～59歳	365	17.2%		5千円未満	214	10.1%
	60～69歳	323	15.3%		5千円以上～1万円未満	323	15.3%
	70歳以上	562	26.5%		1万円以上～5万円未満	725	34.2%
職業	会社員	512	24.2%		5万円以上～10万円未満	355	16.8%
	会社役員・管理職	81	3.8%		10万円以上	323	15.3%
	公務員・団体職員	120	5.7%	医療費 負担感	とても負担に感じている	210	9.9%
	自営業	76	3.6%		負担に感じている	389	18.4%
	自由業・専門職	43	2.0%		やや負担に感じている	770	36.4%
	派遣・契約社員	107	5.1%		あまり負担に感じていない	581	27.4%
	パート・アルバイト	309	14.6%		負担に感じていない	102	4.8%
	学生	32	1.5%		まったく負担に感じていない	66	3.1%
	専業主婦・専業主夫	408	19.3%	世帯年収	200万円未満	189	8.9%
	無職	404	19.1%		200万円以上～400万円未満	462	21.8%
居住エリア	その他	26	1.2%		400万円以上～600万円未満	356	16.8%
	北海道	91	4.3%		600万円以上～800万円未満	191	9.0%
	東北	145	6.8%		800万円以上～1000万円未満	126	5.9%
	関東	131	6.2%		1000万円以上	120	5.7%
	京浜／一都三県	617	29.1%		分からない／答えたくない	674	31.8%
	北陸	123	5.8%	自覚健康度 (現在の 健康状態)	とても健康	91	4.3%
	東海	239	11.3%		健康	423	20.0%
	京阪神	350	16.5%		どちらかといえば健康	1,111	52.5%
	中国	125	5.9%		どちらかといえば健康ではない	322	15.2%
	四国	64	3.0%		健康ではない	124	5.9%
最終学歴	九州	233	11.0%		まったく健康ではない	47	2.2%
	中学校卒業	58	2.7%	受診疾患	現在の受診・疾患有	1,173	55.4%
	高等学校卒業	759	35.8%		現在の受診・疾患無	945	44.6%
	専門学校・高専卒業	289	13.6%	n = 2,118			
	短期大学卒業	209	9.9%				
	4年制大学卒業	656	31.0%				
	6年制大学卒業	11	0.5%				
	大学院修了	67	3.2%				
	その他	6	0.3%				
	答えたくない	63	3.0%				

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

費用対効果評価における価格調整部分の評価

医薬産業政策研究所 主任研究員 三浦佑樹

要旨

本稿では、革新的医薬品の補正加算（本調査では主に有用性加算）の加算部分の評価について、費用対効果評価の対象となった15品目を対象に分析した。今回の調査対象の価格調整を行う加算部分について、薬価算定時では算定比較薬に対して「新規作用機序」、「高い有効性・安全性」、「治療方法の改善」、「製剤工夫による有用性」が評価されていた。データ数の制約で本格的な統計分析は困難であるが、これらの算定要件と費用対効果評価分析の加算調整率との関係を分析したところ、薬価算定時に加算要件となる「新規作用機序」を有することと、費用対効果評価によって加算調整がされるかどうかの確率とは統計的に有意な関係が観察されないことが示唆された。また、加算調整率0%および90%の6品目を対象とした分析では、算定比較薬と比較対照技術が異なる品目が4つあり、両方で価格差があった事例もみられた。透明性や予見性といった観点で今後、さらなる分析・検討・議論が進むことを期待する。

1. はじめに

医薬品のもたらす価値は医薬品自体の進化や、医療を受ける国民自身の価値観の変化など様々な要因によって日々変化してきており、これら进行评估するための施策は製薬産業のイノベーションを促進するためにも極めて重要である。本邦では、保険医療で使用できる医薬品の価格を設定する薬

価基準制度と、薬価収載の後に価格調整を行うことを目的とした費用対効果評価制度の両制度が存在する。薬価基準制度では、有効性・安全性以外にも加算要件が設けられており、条件を満たすことで加算や価格の調整を受けることができる。上市時の医薬品は、価値の評価に資するだけの臨床エビデンスが十分ではないため、一旦これらを定められた要件の数に応じて1ポイント5%のような形で評価する仕組みも存在する。加えて、財政的な影響の大きい品目はこの評価を医療経済的に見直すような費用対効果評価制度を設けることで、皆保険のもと素早く最新の医療サービスを国民に届けることができています。

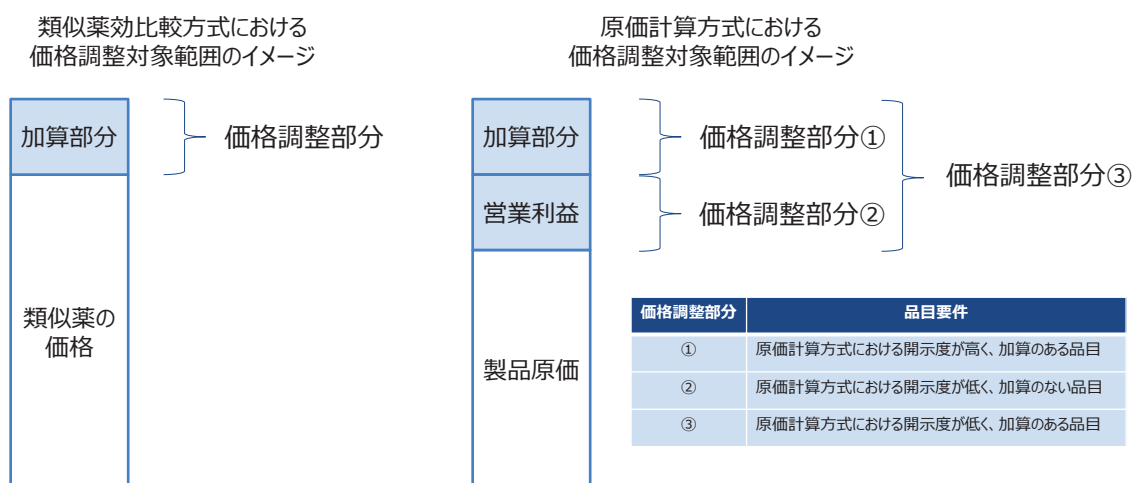
本調査ではこの両制度の加算率および加算要件と、加算部分の調整率に着目し、費用対効果評価における加算調整部分の現状把握をすることを目的に調査を行った。

2-1. 調査方法

本調査の対象は、日本の薬価基準に収載された後に日本の費用対効果評価に選定され、2019年4月から2023年5月までにC2Hのwebサイト¹⁾上で評価終了となった医薬品15品目とした。そのうち価格調整率に関する分析では、分析対象集団ごとの患者割合が企業秘密にあたるとして非公開であったキムリア、長期的有効性に関するデータが不足していることから、必要なデータ収集を行うこととし、分析中断となっているゾルゲンスマを除

1) C2H（保健医療経済評価研究センター） 費用対効果評価の制度化以後（2019.4～）に選定された品目 <https://c2h.niph.go.jp/results/item.html>

図1 費用対効果評価制度における価格調整の対象範囲のイメージ



出所：中医協資料をもとに医薬産業政策研究所が作成

いている。類似品として個別の分析・評価を行っていない品目²⁾は重複を防ぐ目的で調査対象から除いた。

本稿で使用する用語を次の通り定義する。有用性加算率（以下、加算率も同義語とする）は、薬価算定時の補正加算のうち画期性・有用性加算（以下、有用性系加算も同義語とする）に該当するものとする。

加算調整率は、図1の価格調整部分に対して図2のICERの区分に応じた価格調整率を比較対象集団ごとに該当する患者割合³⁾に基づいて算出したものとする（式1）。

加算調整率（％）＝1－ICERの区分に応じた価格調整率（％）×患者割合（％）⁴⁾…（式1）

価格引き下げ率は、費用対効果評価制度に基づいた評価結果によって、価格調整部分のみ価格調整を行った後の薬価を調整前の薬価で除した値とする（式2）。分析対象のうち、原価計算方式で算定された医薬品もあり、それら医薬品は、有用性加算率に加えて営業利益も含めた形で価格引き下げ率を算出した（式2）。

価格引き下げ率（％）＝1－調整後薬価（円）÷調整前薬価（円）…（式2）

薬価算定時に受けた加算率（原価計算方式の場合は、営業利益も含む）、比較算定薬⁵⁾、加算要件に加えて、費用対効果評価時の加算調整率および価格引き下げ率と比較対照技術の情報から、薬価算定時の加算部分がその後の費用対効果評価でどのように調整がされたか、その背景情報を明らかにすることを目的に分析を行った。費用対効果評価分析の結果は、有用性加算がどのような要件でどの程度加算されたかだけではなく、外国平均価格調整がされたかどうか、また算定比較薬と比較対照技術の差にも依存するが、データの制約によって今回の分析ではこれら3つの要因を同時に考慮した分析を行うことは困難である。したがって、今回は基本的な事実確認を目的に、有用性加算、算定比較薬と比較対照技術の差の影響を、それぞれ個別に議論することとする。

なお、分析対象品目が15品目と限定的であるため統計解析は行っていない（一部参考情報のみ含む）。

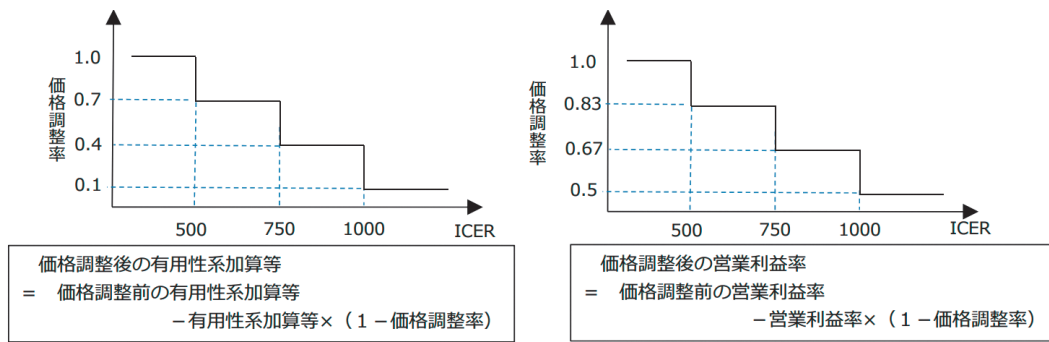
2) ビレーズ、エナジア、テリルジー200、イエスカルタ、ブレヤンジ、エンレスト、ベリキューボは、類似品の評価結果に準ずるため、個別の分析を行っていないことから調査対象から除外した。

3) C2Hの報告書より患者割合の値を引用した。

4) 比較対象集団が複数ある場合は、比較対象集団ごとのICER区分に応じた価格調整率に比較対象集団ごとの患者割合を乗じている。

5) 類似薬効比較方式にて薬価算定された際の類似薬に相当する。

図2 費用対効果評価制度における ICER の区分と価格調整率



引用：厚生労働省 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（第53回）費－2 参考 費用対効果評価制度について⁶⁾

2-2. 対象品目の概要

本調査の対象品目の結果一覧を表1に示す。その後に表1の個別集計結果を紹介する。算定比較薬および比較対照技術は、成分名および医療技術を示している。費用対効果評価は、品目ごとに受けるものであるため、本文中では品目名（商品名）にて記載する点をご容赦願いたい。

本調査の対象品目は、図3の左図より、3分の2が類似薬効比較方式（Ⅰ）、残りの3分の1が原価計算方式で算定されている。今回の調査対象は、類似薬効比較方式のうち補正加算（画期性・有用性）がついているものを調査対象としているため、類似薬効比較方式（Ⅱ）は対象外となっている。図3の右図より、費用対効果評価のカテゴリー⁷⁾では、有用性系加算が算定または、開示度が50%未満かつ市場規模予測が100億円以上のH1が8割を占めた。コララン1品目がH2（有用性系加算が算定または、開示度が50%未満かつ市場規模予測が50億円以上100億円未満）、キムリア、ゾルゲンスマの2品目がH3（有用性系加算が算定または、開示度が50%未満かつ著しく単価が高い等の中医協総会において必要と判断された品目）であった。

図4は、図3をクロス集計したものである。サンプルが少ないため、主観的な観測となるが、薬価算定方式と費用対効果評価のカテゴリーの傾向に大きな違いは見られなかった。

図5の薬価算定時の加算なしとなった3品目（ノクサフィル錠⁸⁾、エムガルディ、ベクルリー）は、いずれも原価計算方式で算定され、有用性系加算はついていない。算定要件の項目をみると、「治療方法の改善」によって加算を受けた品目は9品目あり、次いで「新規作用機序」によって加算を受けた品目は4品目、「高い有効性・安全性」、「製剤工夫による有用性」はそれぞれ1品目ずつであった。

図6（左図）の加算率は、対象品目の有用性加算率の分布を示している。ポイントに応じた形で加算がついていることから5%区切りで分布しており、5%が6品目ともっとも多い。なお、原価計算方式で算定された品目は、その開示率に応じて加算率の調整がなされているため、5%区切りでないものも存在する。

図6（中央）の加算調整率は、図2の1からICER区分に基づいた価格調整率を患者割合で加重平均をしたものを引いた値である。なお、抗がん剤のように配慮が必要とされる品目は、別のICER区分に応じて求めている（詳細は割愛）。加算調整率の分布を見ると、価格引き下げを受けていない品目（加算調整率が0%）が4品目、90%（加算調整率の最大値）が2品目あり、その他は3%、6%、14%、34%、35%、50%、54%に1品目ずつ分布していた。価格引き下げ率は、有用性加算部分の価格調整を行ったあとの価格全体の引き下げ率を示している。

6) 厚生労働省 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（第53回）費－2 参考 費用対効果評価制度について <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000808909.pdf>

7) 医薬品の費用対効果評価について 中医協 総会資料 <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000757519.pdf>

8) ノクサフィルは、ノクサフィル錠のみが費用対効果評価の対象となっているため剤型情報を加えている。

表1 対象品目の情報一覧

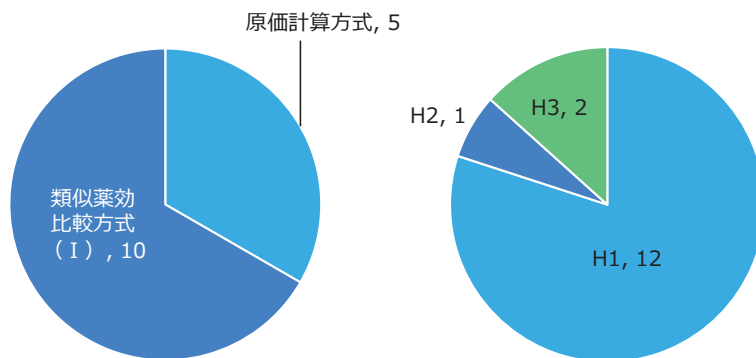
品目名 (成分名)	費用対効果 評価区分	算定方式	有用性 加算要件	有用性 加算率	価格引き 下げ率	加算 調整率	算定比較薬	費用対効果評価時の比較対照技術
テリルジー100 (フルチカゾンフランカルボン酸エステル/ウメクリジニウム臭化物/ピランテロールトリフェニル酢酸塩)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ハ、治療方法の改善	10%	0.5%	6.2%	ウメクリジニウム臭化物/ピランテロールトリフェニル酢酸塩	MITT、ICS/LABA、LAMA/LABA
キムリア (チサゲンレクルユーセル)	H3	原価計算方式	イ、新規作用機序 ハ、治療方法の改善	7%	4.3%	—※1	— (原価計算方式のためなし)	B-ALL ブリナツモマブ、イノツズマブ オゾガマイシン DLBCL サルベージ化学療法+/-同種 HSCT、サルベージ化学療法
ユルトミリス (ラブリズマブ)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ハ、治療方法の改善	5%	4.3%	90.0%	エクリズマブ	エクリズマブ
トリンテリックス (ボルチオキセチン臭化水素酸塩)	H1	類似薬効比較方式 (I)	イ、新規作用機序	5%	4.3%	90.0%	エスシクロプラム	軽度のうつ病・うつ状態：経過観察（分析不能）、中等症以上のうつ病・うつ状態：ミルナシブラン
コララン (イバブラジン塩酸塩)	H2	類似薬効比較方式 (I)	イ、新規作用機序 ハ、治療方法の改善	35%	0.0%	0.0%	ピモベンダン	プラセボ
ノクサフィル錠 (ボサコナゾール)	H1	原価計算方式	なし	0%	0.5%	3.1%	— (原価計算方式のためなし)	造血幹細胞移植患者：フルコナゾール、好中球現象が予測される血液悪性主要患者：イトラコナゾール
カボメティクス (カボザンチニブリンゴ酸塩)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ロ、高い有効性・安全性	10%	0.0%	0.0%	スニチニブリンゴ酸塩	腎細胞がん：スニチニブ、エベロリムス及びアキシチニブ、肝細胞癌：レゴラフェニブ
エンハーツ	H1	類似薬効比較方式 (I)	ハ、治療方法の改善	5%	2.2%	35.2%	トラスツズマブエムタンシン	乳がん：トラスツズマブ+化学療法（ビノレルビン）、胃がん：ニボルマブ
ゾルゲンスマ (オナセムノゲン アペパルボペク)	H3	類似薬効比較方式 (I)	イ、新規作用機序 ハ、治療方法の改善	50%	—※2	—※2	ヌシネルセンナトリウム	分析中断
リベルサス (セマグルチド)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ニ、製剤工夫による有用性	5%	2.5%	53.6%	セマグルチド	DPP-4阻害薬と SGLT2のうち安価な組み合わせのもの、SGLT2阻害薬のうち最も安価なもの、GLP-1受容体作動薬のうち最も安価なもの
エムガルディ (ガルカネズマブ)	H1	原価計算方式	なし	0%	5.0%	34.1%	— (原価計算方式のためなし)	プロプラノロール、BSC (Best supportive Care)
ボライビー (ボラツズマブ ベドチン)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ハ、治療方法の改善	5%	0.0%	0.0%	ブレンツキシマブベドチン	R-ICE 療法
ダラキューロ (ダラツムマブ、ボルヒアルロニダーゼ アルファ)	H1	類似薬効比較方式 (I)	ハ、治療方法の改善	5%	0.0%	0.0%	ダラツムマブ	多発性骨髄腫：ダラツムマブ、全身性 AL アミロイドーシス：シクロホスファミド水和物、ボルテゾミブ及びデキサメタゾンの併用レジメン
アrikeis (アミカシン 硫酸塩 (リボソーム製剤))	H1	原価計算方式	ハ、治療方法の改善	2%	9.4%	50.0%	— (原価計算方式のためなし)	多剤併用療法
ベクルリー (レムデシビル)	H1	原価計算方式	なし	0%	2.1%	13.7%	— (原価計算方式のためなし)	標準治療（レムデシビル+標準治療）

注1：キムリアは、患者割合が非公開（企業秘密）のため加算調整率の値は算出できなかった

注2：ゾルゲンスマは、分析中断のため、価格引き下げ率および加算調整率の値は算出できなかった

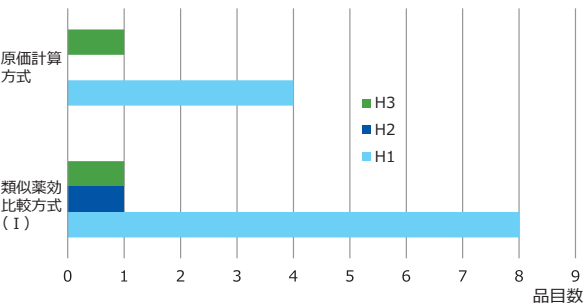
出所：中医協資料、C2Hをもとに医薬産業政策研究所が作成

図3 対象品目の薬価算定方式と費用対効果評価のカテゴリーの集計結果



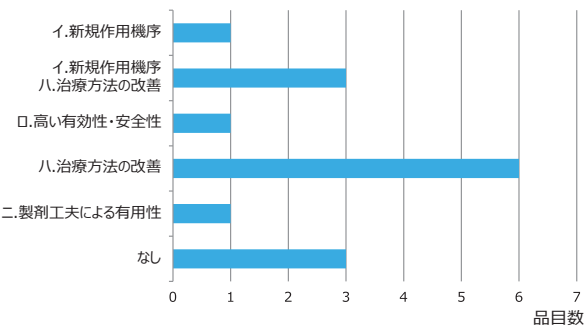
出所：医薬産業政策研究所が作成

図4 対象品目の薬価算定方法と費用対効果評価の
カテゴリーの集計結果



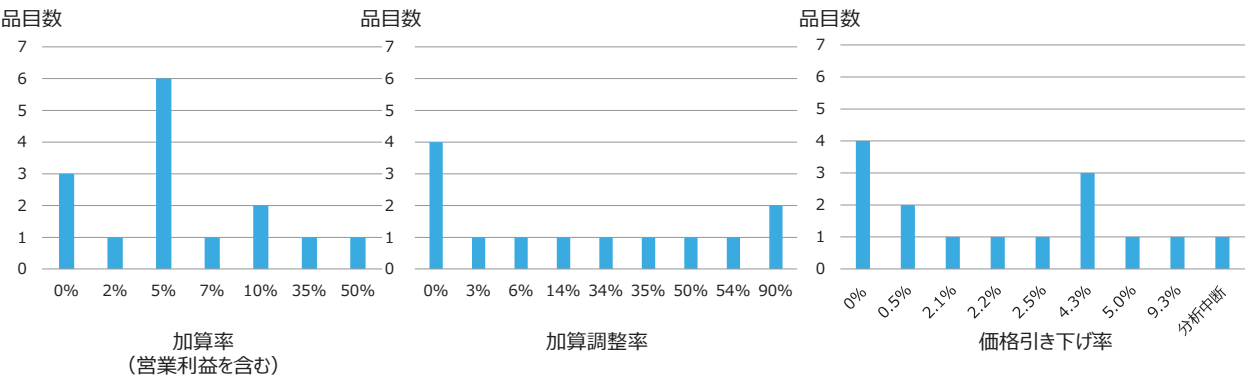
出所：医薬産業政策研究所が作成

図5 対象品目の有用性加算の算定要件と品目数



出所：医薬産業政策研究所が作成

図6 対象品目の加算率と価格引き下げ率と加算調整率の集計結果



出所：医薬産業政策研究所が作成

3-1. 加算調整率別（0%および90%）の個別事例分析

費用対効果評価分析の結果を受けて、有用性加算部分がそのまま据え置かれた（加算調整率が0%）4品目と、有用性加算部分が最大限調整された（加算調整率が90%）2品目を分析した。

表2より加算調整率が0%の集団は、薬価算定時の有用性が費用対効果評価分析の結果、医療経済的に比較対照技術と比べて効率的であると認められたために価格調整がされていない集団で4品目が該当する。この集団における加算要件および算定比較薬と比較対照技術の違いを検討した。有

表2 加算調整率別（0%および90%）の個別事例

加算調整率	品目名 (成分名)	有用性加算要件	有用性加算率	算定比較薬	費用対効果評価時の比較対照技術
0%	カボメティクス (カボザンチニブリンゴ酸塩)	ロ. 高い有効性・安全性	10%	スニチニブリンゴ酸塩	腎細胞がん：スニチニブ、エベロリムス及びアキシチニブ、肝細胞癌：レゴラフェニブ
0%	コララン (イバプラジン塩酸塩)	イ. 新規作用機序 ハ. 治療方法の改善	35%	ピモベンタン	プラセボ
0%	ダラキューロ (ダラツムマブ、ボルヒアルロニダーゼ アルファ)	ハ. 治療方法の改善	5%	ダラツムマブ	多発性骨髄腫：ダラツムマブ、全身性 AL アミロイドーシス：シクロホスファミド水和物、ボルテゾミブ及びデキサメタゾンの併用レジメン
0%	ボライビー (ボラツズマブ ペドチン)	ハ. 治療方法の改善	5%	ブレンツキシマブ ペドチン	R-ICE 療法
90%	トリンテリックス (ボルチオキセチン臭化水素酸塩)	イ. 新規作用機序	5%	エスシタロプラム	軽度のうつ病・うつ状態：経過観察（分析不能）、中等症以上のうつ病・うつ状態：ミルナシプラン
90%	ユルトミリス (ラブリズマブ)	ハ. 治療方法の改善	5%	エクリズマブ	エクリズマブ

出所：医薬産業政策研究所が作成

有用性加算要件に目を向けると、4品目のうち3品目が「治療方法の改善」であった。直観的に「治療方法の改善」が算定要件になると価格調整を受けにくい印象を持つが、今回の調査対象全体15品目のうち9品目が同要件に該当していた（図5）。そのうち3品目のみであるため、加算要件による価格調整の影響であるかは断定できない。そのほか「高い有効性・安全性」が1品目、「治療方法の改善」に加えて「新規作用機序」が1品目であった。

算定比較薬と費用対効果評価時の比較対照技術を比べると、カボメティクス、ダラキューロの2品目は同じ品目であった。コラランは、算定比較薬がピモベンダンであったのに対して比較対照技術はプラセボ、ボライビーは、算定比較薬がブレンツキシマブ ベドチンであったのに対して、R-ICE 療法と異なる医療技術であった。

加算調整率が90%の集団は、薬価算定時の有用性が費用対効果評価分析の結果、医療経済的に比較対照技術と比べて効率的であると認められなかったために最大限の価格調整がされている集団で2品目が該当する。この集団も先ほどの集団と同様に加算要件および算定比較薬と比較対照技術の違いを検討した。

有用性加算要件に目を向けると、「新規作用機序」と「治療方法の改善」とそれぞれ異なる要件に該当していた。加算調整率が0%の集団では、4品目のうち3品目の有用性加算要件が「治療方法の改善」であったことから「治療方法の改善」を有することと有用性加算要件による影響を結び付けて考えることは難しい。

次に算定比較薬と費用対効果評価時の比較対照技術を比べると、ユルトミリスは同じ品目であったが、トリンテリックスは、算定比較薬がエスシタロプラムであったのに対して比較対照技術はミルナシプラムと異なる品目であった。こちらも同様に算定比較薬と比較対照技術が同じあるいは異なることと加算調整率の影響を結び付けて考えることは難しい。

3-2. 有用性加算の算定要件と ICER について

加算調整率に0%および90%の加算要件に目を向けたが、サンプル数が限られていることもあり、関連性を見出すのは難しいため、対象品目すべての加算要件に着目した。その要件として「新規作用機序」、「高い有効性・安全性」、「治療方法の改善」、「製剤工夫による有用性」が挙げられる（図5）。これらの項目のうち、直観的に医療経済の観点で、「高い有効性・安全性」は、治療効果による健康関連 QOL の向上や安全性向上による有害事象発生時の治療費用の削減に寄与し、「治療方法の改善」では効果不十分時の治療選択肢（外科的選択肢の回避など）になりうる点や通院間隔を減らすような利便性の向上は、検査費や外来診察費などの費用削減に寄与すること、「製剤工夫による有用性」は注射剤から経口剤のように侵襲性を少なくすることで QOL 向上に寄与するような印象を持つ。現にこれらの要素は、英国 NICE でも償還可否の意思決定に寄与していることが報告されている⁹⁾。

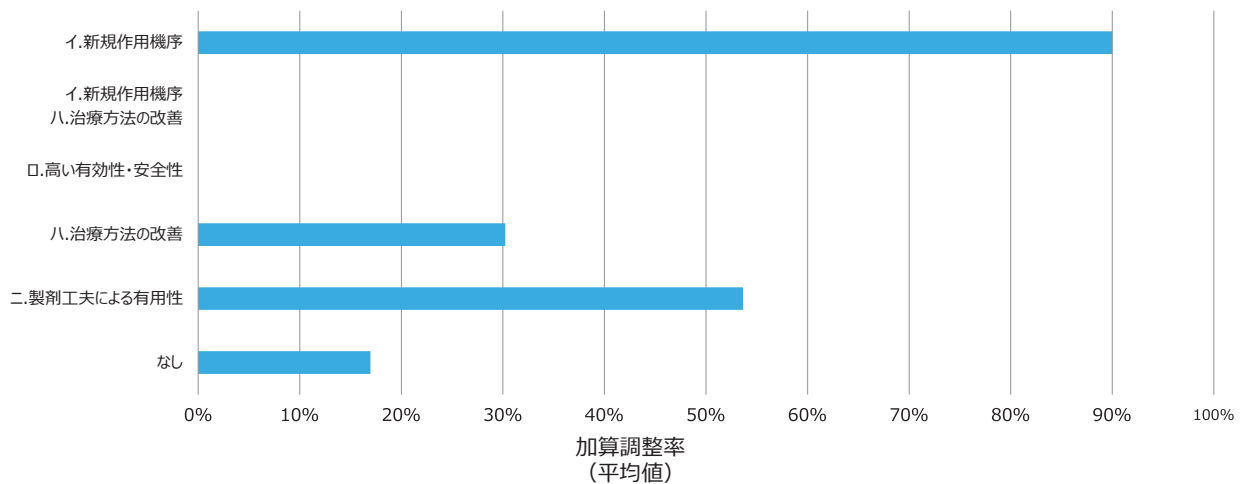
その一方で、費用対効果評価は、既存技術と新しい技術を比較して効率性を評価する。つまり、「新規作用機序」を有することは、ICERに直接の影響を及ぼさない。

調査対象品目における有用性加算の算定要件と加算調整率の関係を図7に示す。

「新規作用機序」のみを有する品目は、トリンテリックスであった（表1）。トリンテリックスは加算調整率が90%と加算調整率は最大であった。一方で、「新規作用機序」と「治療方法の改善」の両方を含む場合は、ゾルゲンスマ、キムリア、コラランの3品目が該当した。そのうち、ゾルゲンスマとキムリアは分析対象から除かれていることから、コラランのみの分析結果であったが加算調整率は0%と有用性加算は据え置かれ、価格の引き下げは行われなかった。サンプル数が少ないため参考情報ではあるが「価格調整率の有無」を目的変数に「新規作用機序の有無」を説明変数として、Stata14を用いてカイ二乗検定を行った。その結

9) 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.67 英国 NICE の HST から見る医薬品の価値評価 三浦佑樹（2023年3月）

図7 有用性加算の算定要件と加算調整率



出所：医薬産業政策研究所が作成

果、p値は0.93と新規作用機序の有無が価格調整に及ぼす影響は、統計的に有意な差はみられなかった。

これら分析結果のみから「新規作用機序」を有することとICERに関する考察は行えないが、広義でとらえると、「新規作用機序」を有することで、治療効果のみならず、既存の治療で効果不十分でも投与が可能になることや安全性の向上など極めて重要な要素であり、有用性加算時に認識されている算定要件には反映されない経路でICERにも寄与する可能性も考えられる。また新規作用機序は創薬の新しい道を開くなどの効果も重要である可能性がある。さらなる事例の蓄積によって、「新規作用機序」に関する検討を行うことが必要となるだろう。

次に算定比較薬と比較対照技術の選定について個別事例の紹介を次項で述べる。

3-3. 算定比較薬と比較対照技術について

表2より、トリンテリックスは、算定比較薬が、SSRIの「エスシタロプラム」であるが、(中等症以上のうつ病・うつ状態の)比較対照技術は、SNRIの「ミルナシプラン」となっている。比較対照技

術の選定理由は、うつ病治療ガイドラインに基づき、抗うつ薬の中でもSSRI、SNRIまたはNaSSAを含む新規抗うつ薬については、忍容性の観点から第一選択薬として使用されており、それらの薬剤間に優劣は示されていない。よって、これらの薬剤の中から最も安価なものを比較対照技術として設定することが適切であると考えられる¹⁰⁾とされている。一方、費用対効果評価の分析ガイドラインの第3版では、比較対照技術について次の通り記載がある。評価対象技術が分析対象集団への治療として導入された時点で、臨床的に幅広く使用されており、評価対象技術によって代替されると想定されるもののうち、治療効果がより高いものを一つ選定することが原則的な考え方である¹¹⁾とされている。本稿は、算定比較薬と比較対照技術の妥当性については言及しない前提であくまで両者の比較のみ言及することとする。

次に価格の検討を行った。C2Hの報告書¹⁰⁾より、エスシタロプラムの1日薬価は、230.27円であり、ミルナシプランの1日薬価は、41.78円であった。費用対効果評価では、単純に薬価だけではなく、その他の費用についても含まれるものであるが、報告書ではこれら費用の金額が明らかにされてい

10) C2H、[C2H1905] ボルチオキセチン（トリンテリックス）報告書 https://c2h.niph.go.jp/results/C2H1905/C2H1905_Report.pdf

11) C2H（保健医療経済評価研究センター）中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第3版 https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_ja.pdf

ないため、ここでは分析のうち1日薬価のみに着目をして考察を述べる。前述の通り、算定比較薬のエシタロプラムと比較対照技術のミルナシプランの両者の差は1日薬価で188.49円の薬価差がある。加算部分の価格調整を行う際に薬価差が生じてしまっている状態で分析が行われている可能性がある(図8)。トリンテリックスと同じ観点でコラランの考察も行う。コラランは、算定比較薬が、「ピモベンダン」であるが、比較対照技術は、プラセボとこちらも異なっている。プラセボが比較対照技術に選定された理由は報告書に明記されており、標準的な治療を実施したにもかかわらず、コントロール不能の場合、日本で使用可能な他の治療法は存在しないことから、標準的な治療のみが比較対照技術として適切とされている。トリンテリックスと同様に価格差を検討するが、コラランの報告書¹²⁾には1日薬価の情報が記されていない。一方で、算定比較薬のピモベンダンには薬価がついており、プラセボに薬価はないことは感覚的にも明らかである。費用対効果評価では、標準治療¹³⁾に加えてプラセボと標準治療にコラランを加えた比較を行っていた。

ICERを算出する過程で比較対照技術との効用値の差も反映されることから、薬価差が生じること自体に問題はないが、比較対照技術の選定条件に応じて薬価差が生じ、その薬価差がすべてICER

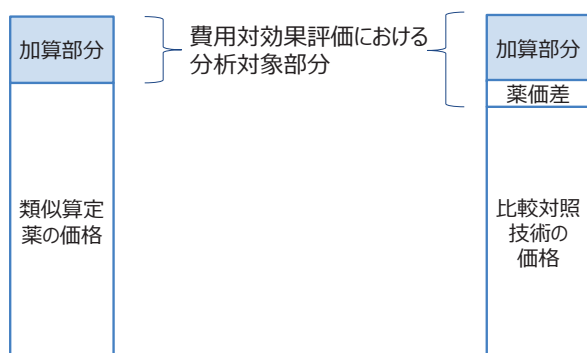
で反映されるかといえば「新規作用機序」のような条件がどのように影響するか事例の蓄積を待ち、分析を行う必要があるだろう。

これらは個別事例の検討であるため、今回の結果から比較算定薬および比較対照技術との薬価差が原因で今回の加算調整率に差が生じたとは言いきれないが、その一方で、算定比較薬と比較対照技術が異なる場合は今回のような薬価差が生じたまま分析が行われていることが分かった。算定比較薬の選定基準として、「効能及び効果」、「薬理作用」、「組成及び化学構造式」、「投与形態、剤形区分、剤形および用法」の4点から選定しているが、比較対照技術は、代替性(治療ガイドライン等)によって選定される。医薬品の上市時は、そのエビデンスや安全性情報等が十分ではないため、選定条件を統一することは難しい。日本のように保険償還した後に費用対効果評価を行う仕組みを取っているためこのような問題が生じるものと推察する。選定条件は、その制度の目的に応じた形で決められていることからその是非をここで述べることはしないが、算定比較薬および比較対照技術を選定する際にこの薬価差をどのように取り扱うべきか検討する必要があるのではないだろうか。薬価差が生じる要因は加えて、薬価算定時に外国平均価格との乖離が大きい場合には、外国平均価格調整が行われる。今回の両剤はいずれも外国平均価格調整によってそれぞれ減算を受けていた(表1)。減算に伴い、費用対効果評価分析の中では、費用が減少することにより、ICERは減少する。したがって、費用対効果評価に伴う価格調整がされる可能性を減らすものと推察した。

4. まとめ

本稿では、革新的医薬品の補正加算(本調査では主に有用性加算)の加算部分の評価について、費用対効果評価の対象となった15品目を対象に分析した。今回の調査対象の価格調整を行う加算部分について、薬価算定時では算定比較薬に対して

図8 トリンテリックスの費用対効果評価における分析対象部分と薬価差



出所：医薬産業政策研究所が作成

12) C2H、[C2H1906] イバブラジン(コララン) 報告書 https://c2h.niph.go.jp/results/C2H1906/C2H1906_Report.pdf

13) 標準的な治療：β遮断薬、ACE 阻害薬あるいは ARB、MRA の投与を示す。

「新規作用機序」、「高い有効性・安全性」、「治療方法の改善」、「製剤工夫による有用性」が評価されていた。データ数の制約で本格的な統計分析は困難であるが、これらの算定要件と費用対効果評価分析の加算調整率との関係を分析したところ、薬価算定時に加算要件となる「新規作用機序」を有することと、費用対効果評価によって加算調整がされるかどうかの確率とは統計的に有意な関係が観察されないことが示唆された。加算部分を調整する費用対効果評価分析の結果は、有用性加算がどのような要件でどの程度加算されたかだけではなく、外国平均価格調整がされたかどうか、また算定比較薬と比較対照技術の差にも依存するが、データの制約によって今回の分析ではこれら3つの要因を同時に考慮した分析を行うことは困難である。したがって、今回は基本的な事実確認を目的に、有用性加算、算定比較薬と比較対照技術の差の影響を、それぞれ個別に議論することとした。

薬価算定時に加算要件となる「新規作用機序」の有無は、費用対効果評価によって価格調整がされるかどうかの確率とは統計的な関係が無いこと

が示唆された。また算定比較薬と比較対照技術の両方で異なる品目・医療技術が選定されている場合、トリンテリックスのように薬価差が生じている事例がみられた。

薬価制度では、患者アクセスの観点や有効性・安全性に加えてイノベーションを評価する目的で制度設計がされている。一方で、費用対効果評価制度は、償還後に財政的な影響の大きい医薬品を対象とし、医療経済的な観点で分析を行い、加算分の価格調整を行っている。今回の調査で、薬価算定時の類似薬と価格調整時の比較対照技術が異なる課題や、ICERに反映されにくい算定要件の取り扱いについてその良し悪しを述べることはできないが、透明性や予見性といった観点で今後、さらなる検討がされてもよいのではないだろうか。医薬品や医療技術の進歩によって、両制度を採用している本邦にとってこれらの議論は今後も続くこととなるが、国民にとって重要となる多様な価値が評価に適切に盛り込まれるような分析・検討・議論が進むことを期待する。

アンメット・メディカル・ニーズに対する 医薬品の承認状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（以下、HS 財団）による医療ニーズに関する調査結果¹⁾をもとに、新薬の承認および開発パイプラインに関するデータを集計し、アンメット・メディカル・ニーズに対する製薬企業の取り組み状況を継続的に分析している^{2) 3)}。

本稿では、政策研ニュースNo.66（2022年7月）³⁾の報告で対象とした2019年1月から2021年12月末までに承認された新医薬品に、2022年に新たに承認された新医薬品を加えて分析し、加えて近年、承認品目数が増加している悪性腫瘍性疾患領域に着目し、悪性腫瘍治療薬の承認品目数の推移を2014年1月から2022年12月までの3期に分け、掘り下げて分析したので報告する。

2. 治療満足度・薬剤貢献度別にみた新医薬品の承認品目数

図1は2019年に報告された第6回 HS 財団調査で、「重篤な疾患」、「QOL を著しく損なう疾患」、

「患者数の多い疾患」、「社会的に影響の多い疾患」等として選択された60疾患に対する治療満足度（横軸）、薬剤貢献度（縦軸）に沿って疾患をプロットした2019–2021年の既報³⁾に2022年分を追加し、2019–2022年の4年間に日本で承認された60疾患に適応を持つ新医薬品の承認件数を、円の大きさおよび数値で示したものである。

新医薬品の定義は「新有効成分含有医薬品」「新効能医薬品」「新再生医療等製品」「再生医療等製品の適用対象の追加」として承認された医薬品とした。

当該期間での総承認件数は431品目であり^{4) 5)}、HS 財団調査の60疾患に関する承認は181品目（1承認に複数の適応疾患がある品目を含む）、140製品であった。このうち new molecular entity（NME：新規化合物）は73品目（69製品）であり、その割合は40.3%（73/181）であった。

181品目のうち、内資系企業が承認取得した品目数は74品目（59製品）、外資系企業は107品目（81製品）であった。

60疾患に関する新再生医療等製品は、2022年に

1) 公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「2019年度 国内基盤技術調査報告書—60疾患に関する医療ニーズ調査（第6回）—」 <https://u-lab.my-pharm.ac.jp/~soc-pharm/achievements/img/index/r01.pdf>

注) HS 財団は2021年3月末をもって解散した。本医療ニーズ調査などの研究事業は明治薬科大学社会薬学研究室において引き続き実施されることになっている。（参照日：2023年5月8日）

2) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュースNo.31（2010年10月）、No.34（2011年11月）、No.38（2013年3月）、No.52（2017年11月）、No.59（2020年3月）

3) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュースNo.41（2014年3月）、No.45（2015年7月）、No.61（2020年11月）、No.66（2022年7月）

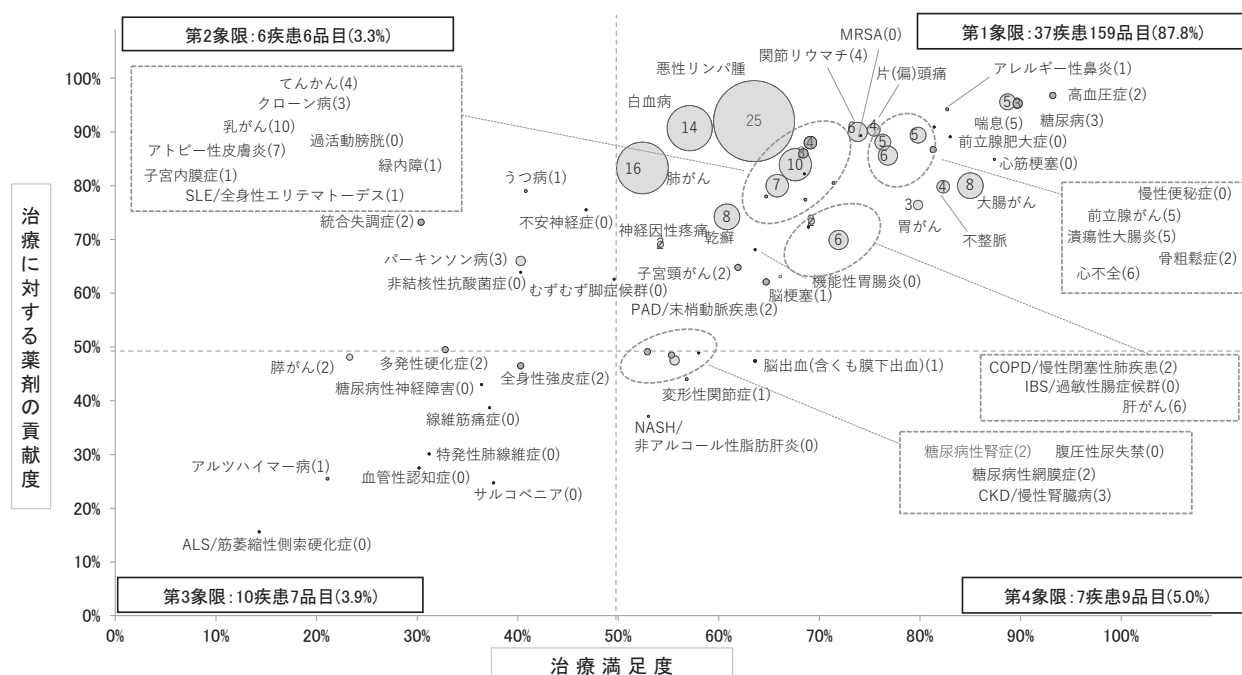
4) PMDA ホームページ 新医薬品の承認品目一覧

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>

5) PMDA ホームページ 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>

図1 治療満足度・薬剤貢献度（2019年）別にみた新薬承認件数（2019-2022年）



厚生労働省薬事食品衛生審議会部会審議品目又は報告品目における新有効成分含有医薬品・新効能医薬品、および新再生医療等製品として承認された品目を集計の対象とした。

注：数字（括弧内含む）は該当適応の新薬承認品目数を示す。60疾患のうち異なる2疾患に同一薬剤が承認された場合は別々にカウントしている。

注：「神経因性疼痛（神経障害性疼痛）」、「CKD/慢性腎臓病」は疾患定義の見直しにより、承認品目数を前回調査から変更している。

出所：ヒューマンサイエンス振興財団「2019年度 国内基盤技術調査報告書 ―60疾患医に関する医療ニーズ調査（第6回）」(<https://u-lab.my-pharm.ac.jp/soc-pharm/achievements/>)（参照日：2023年5月8日）、審査報告書、明日の新薬、医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.66（2022年7月）、PMDA 平成31年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

CART細胞療法の3製品が悪性リンパ腫を対象に一変承認を受け、1製品は適応疾患の拡大、2製品は既適応患者の要件緩和であり、8品目5製品となった。

60疾患に関連する承認品目数を象限別に見ると、治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以上である第1象限に含まれる疾患に対する新医薬品の承認品目の割合は87.8% (159/181) と、前回85.7%を上回り、薬剤満足度、貢献度ともに高い疾患領域に更に新規承認が集中していた。特に悪性腫瘍性疾患の領域で承認された品目が多く、効能別にみると「悪性リンパ腫」25品目、「肺がん」16品目、「白血病」14品目、「乳がん」10品目、「大腸がん」8品目、「肝がん（肝細胞がん）」6品目、「前立腺がん」5品目、「胃がん」3品目、「子宮頸がん」2品目と、第1象限に位置する悪性腫瘍を

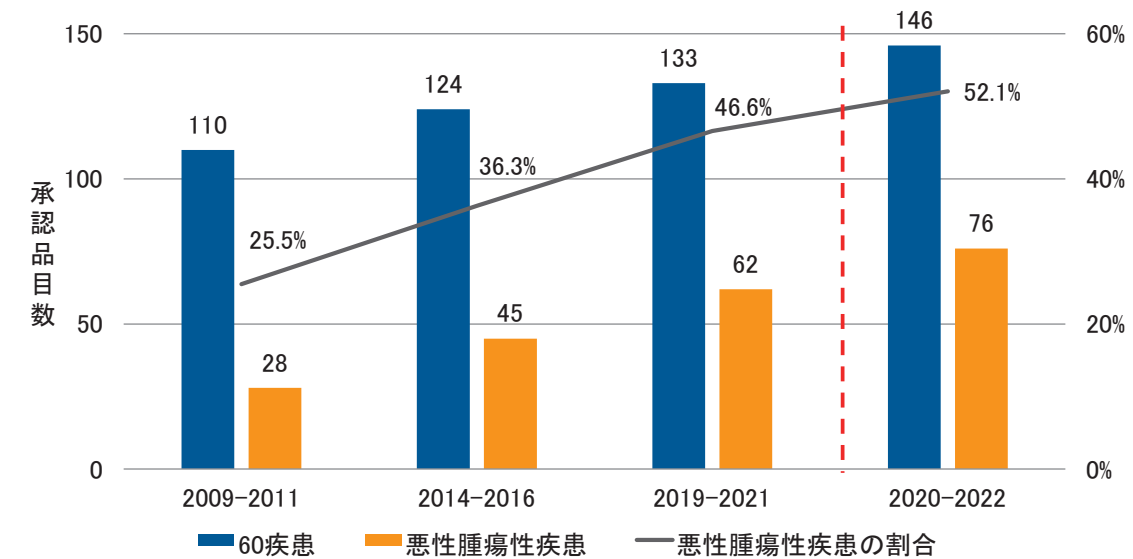
対象とした薬剤が多くを占め（56.0%、89/159）、2022年は、60疾患内の悪性腫瘍治療薬に新たに29品目が追加された。第2、3、4象限の承認品目数については、それぞれ6品目（3.3%）、7品目（3.9%）、9品目（5.0%）であった。

3. 60疾患における悪性腫瘍治療薬の承認推移

政策研ニュース No.66³⁾ に引き続き、悪性腫瘍治療薬に着目して分析した。

図2は、2009年4月以降に承認された60疾患に関する新医薬品のうち、10の悪性腫瘍性疾患領域（悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん）が占める割合を2009-2011年、2014-2016年、2019-2021年の3年間毎の既報データに、2020-2022年の3年間を加えて示したものである。60

図2 悪性腫瘍性疾患における承認品目数と薬剤貢献度の推移



調査報告年	2009	2014	2019
治療満足度	59.5%	63.1%	64.2%
薬剤貢献度	60.0%	69.9%	77.9%

注：対象とした悪性腫瘍性疾患は悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん

注：治療満足度と薬剤貢献度は10の悪性腫瘍性疾患における平均値

出所：ヒューマンサイエンス振興財団「国内基盤技術調査報告書—60疾患医に関する医療ニーズ調査（2009年、2014年、2019年）」PMDA 平成31年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品、新再生医療等製品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

疾患に関連する承認品目数はそれぞれ110、124、133、146品目と増加しており、そのうち10の悪性腫瘍領域の新医薬品数はそれぞれ28、45、62、76品目、割合にすると25.5%、36.3%、46.6%、52.1%と経時的に増加しており、悪性腫瘍治療品目が半数以上を占める結果であった。また、2009年、2014年、2019年のHS財団調査における10の悪性腫瘍性疾患の治療満足度と薬剤貢献度の平均値をみると、両数値とも経時的に増加しており、特に薬剤貢献度の増加量が大きかった。

4. カテゴリー別にみた悪性腫瘍治療薬の承認推移

近年の10の悪性腫瘍治療薬の承認品目数の増加要因を調査するために、分子標的薬や抗体医薬に着目し、その増減を探った。第5回HS財団調査

結果⁶⁾が報告された2014年にさかのぼり、2014-2016年を「2010年代中期」、2017-2019年を「2010年代後期」、2020-2022年を「2020年代初期」として、各3年間に承認された新医薬品を「分子標的薬」、「抗体医薬品」、「その他抗がん剤」、のカテゴリーに分類し、各年次の承認数と承認割合の推移をみた（図3、4）。「再生医療等製品」の5品目は分析から除いた。

「分子標的薬」はこの期間に承認された、分子標的薬として知られるチロシンキナーゼ阻害薬、KRAS阻害薬、BRAF阻害薬、MEK阻害薬、mTOR阻害薬、サイクリン依存性キナーゼ阻害薬、PARP阻害薬、プロテアソーム阻害薬、BCL-2阻害薬を対象とした。「抗体医薬品」は、「遺伝子組換え型抗体医薬品」、「抗体薬物複合体（Antibody Drug Conjugate：ADC）医薬品」を対象とした。「その

6) 公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「2014年度 国内基盤技術調査報告書—60疾患に関する医療ニーズ調査（第5回）—」 <https://u-lab.my-pharm.ac.jp/~soc-pharm/achievements/img/index/h26.pdf>

他抗がん剤」には細胞障害作用、ホルモン阻害作用、代謝阻害作用などの悪性腫瘍治療薬が含まれていた。

3 カテゴリーの悪性腫瘍治療薬の品目数は2010年代中期（以下、10年代中期）、2010年代後期（以下、10年代後期）は、ともに45品目と変わらなかったが、2020年代初期（以下、20年代初期）の承認品目数は71品目と、大幅に増加していた（図3-A）。カテゴリー別に推移をみると、「分子標的薬」の品目数は、経時的に10→18→27に増加し、その割合はそれぞれ22.2%、40.0%、38.0%であった。「抗体医薬品」は10→19→27と推移し、割合は22.2%、42.2%、38.0%であった。「その他抗がん剤」は、25→8→17、割合は55.6%、17.8%、23.9%となっていた。

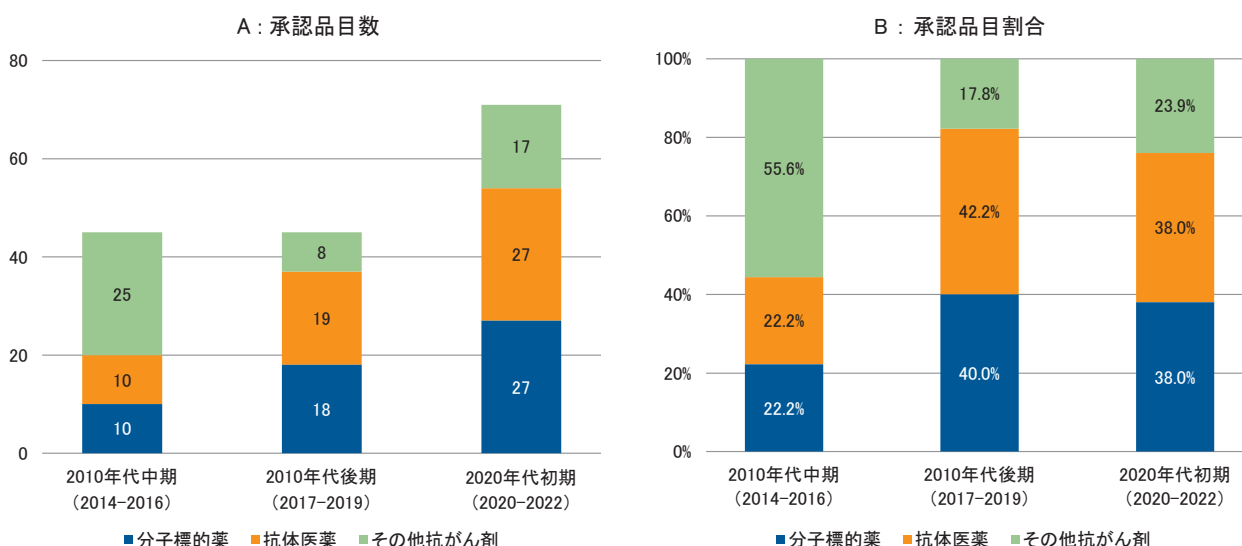
次に、悪性腫瘍治療薬の承認品目数の増加が、NMEの増加によるものか、効能追加によるものかカテゴリー別に推移を分析した。

3 カテゴリーのNME数は各期安定した承認数であったのに対し、効能追加数は、「分子標的薬」、「抗体医薬品」が直線的に増加（図4）しており、20年代初期においては、3 カテゴリーのNME数は

20品目であったが、それに対して適応拡大数は51品目とその差は大きかった。このことから、近年の悪性腫瘍治療薬の承認品目数の増加は、効能追加の影響が大きいことが示唆された。

通期で、各カテゴリーにおける効能追加承認の状況を分析すると、2014-2022年の9年間に10の悪性腫瘍領域で新たに効能追加が承認された医薬品は、「分子標的薬」で32品目、23製品、「抗体医薬品」で42品目、17製品、「その他抗がん剤」で30品目、23製品であり、それらをカテゴリー別に追加承認数が多い順に製品を並べた（図5）。抗体医薬品は効能追加承認を複数取得したものが多く、抗体医薬品で効能追加が多い理由として、上位3剤の免疫チェックポイント抗体薬（ニボルマブ、ペムブロリズマブ、アテゾリズマブ）が大きく牽引しており、この3剤で追加承認数全体の約40%を占めることがわかった。これら抗体3製品は優先審査、また、「再発又は難治性の古典的ホジキンリンパ腫」、「進展型小細胞肺癌」に対し希少疾病用医薬品の承認を取得した製品があり、薬事上の優遇措置がなされていた。

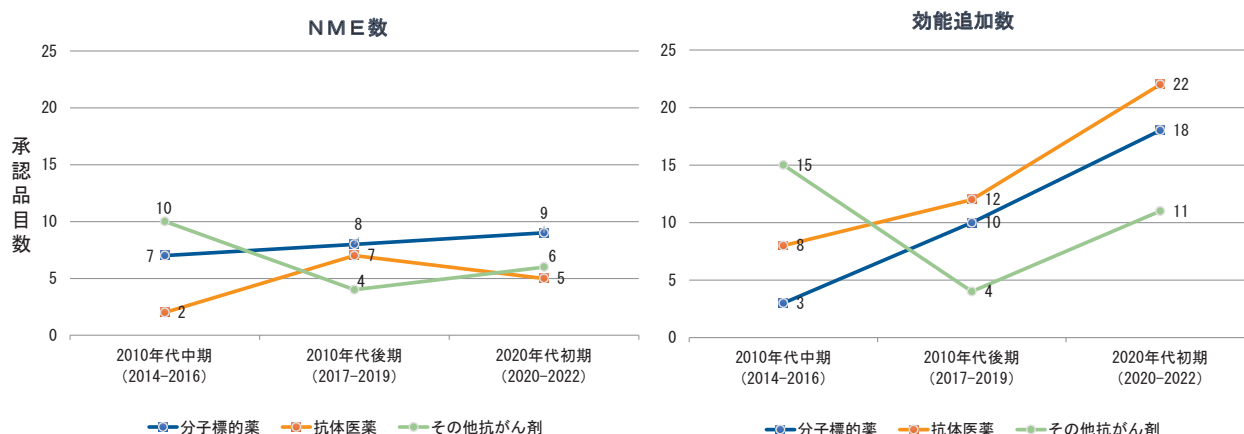
図3 悪性腫瘍性疾患に承認された新医薬品のカテゴリー別分類（2014-2022年）



注：対象とした悪性腫瘍性疾患は悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん

出所：ヒューマンサイエンス振興財団 「2019年度 国内基盤技術調査報告書 —60疾患医に関する医療ニーズ調査（第6回）」PMDA 平成31年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

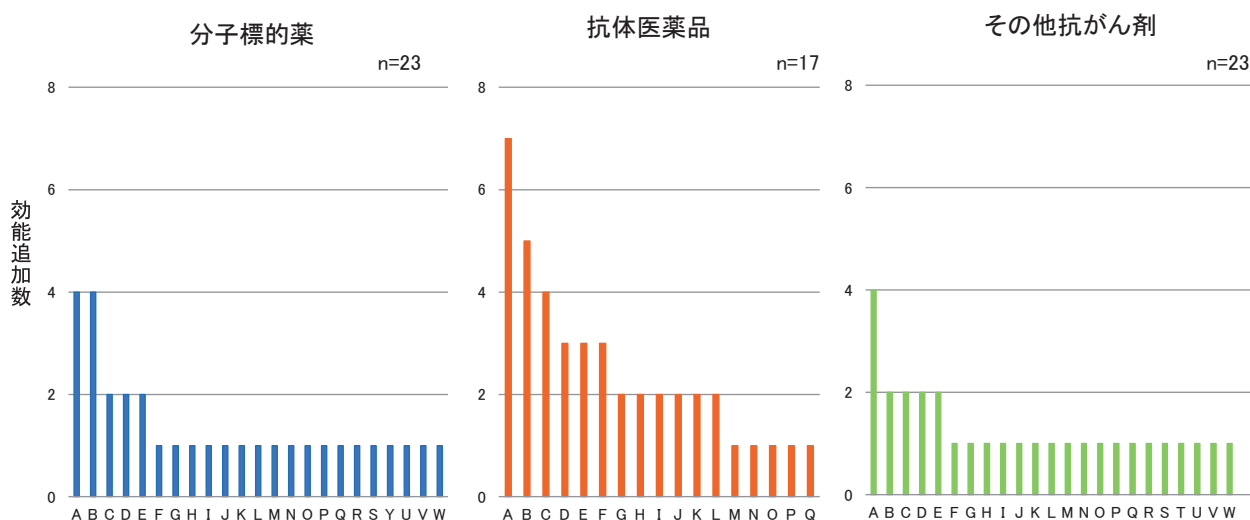
図4 悪性腫瘍性疾患に承認された新医薬品の承認区分別分類（2014－2022年）



注：対象とした悪性腫瘍性疾患は悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん

出所：ヒューマンサイエンス振興財団 「2019年度 国内基盤技術調査報告書 ―60疾患医に関する医療ニーズ調査（第6回）」PMDA 平成31年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

図5 悪性腫瘍性疾患領域での各カテゴリーの効能追加数（2014－2022年）



注：横軸は追加承認をうけた製品を示す（nは製品数を示す）。縦軸は各製品の効能追加数を示す。

注：対象とした悪性腫瘍性疾患は悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん

出所：PMDA 平成26年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

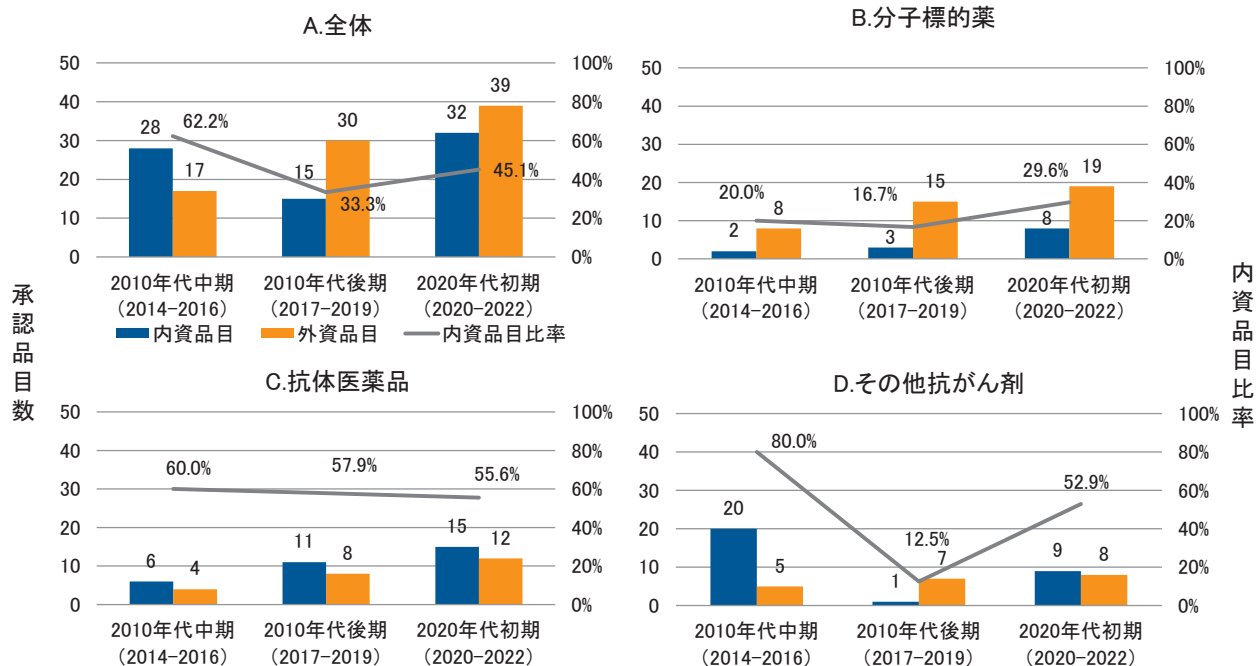
5. 内資・外資別にみた悪性腫瘍治療薬の承認数推移

10悪性腫瘍に対する悪性腫瘍治療薬の承認申請企業を内資・外資に分け、10年代中期、後期、20年代初期の承認数の推移を分析した(図6)。悪性腫瘍治療薬全体では、内資企業の承認品目数は20年代初期に増加したが、同期の外資品目は10年代

中期に比して約2.5倍増加していた。

カテゴリー別にみると、「分子標的薬」は外資が通期にわたりシェアが高いが、内資品目の承認も経時的に伸長していることが認められた。「抗体医薬品」は、内資、外資ともに伸長しており、内資のシェアは通期にわたり優勢であった。

図6 悪性腫瘍性疾患領域での内資品目比率（2014－2022年）



注：対象とした悪性腫瘍性疾患は悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん

出所：PMDA 平成26年～令和4年度承認品目一覧（新医薬品）をもとに医薬産業政策研究所にて作成。

7. まとめと考察

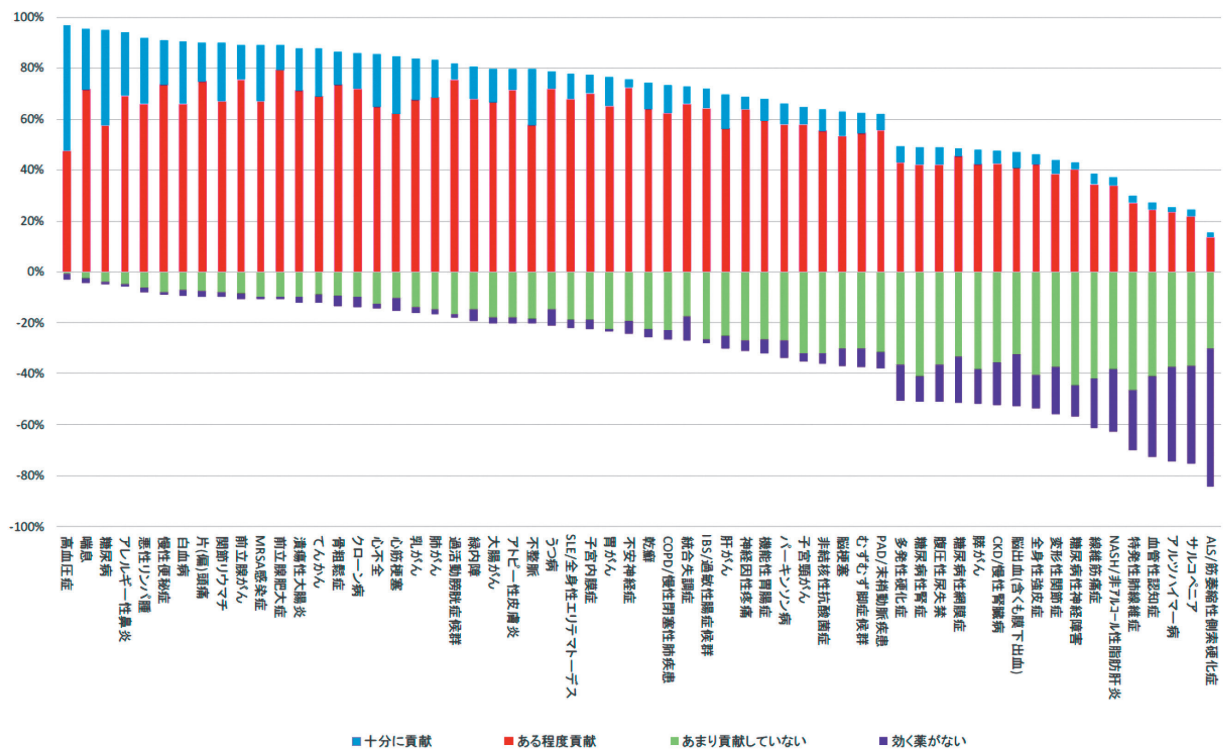
第6回 HS 財団調査における60疾患の治療満足度（横軸）、薬剤貢献度（縦軸）に沿って、2019－2022年の4年間に日本で承認された新医薬品を重ねた結果、治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以上である第1象限に含まれる承認品目数の割合は87.8%と、2022年の1年間でさらに第1象限に集中していた。特に悪性腫瘍治療薬の品目が第1象限品目の約60%を占めており、直近3年間では60疾患に対する新医薬品の約半数が悪性腫瘍治療薬であった。

近年の悪性腫瘍治療薬の増加の状況を調査するために、第5回 HS 財団調査が実施された2014年から2022年の9年間で3期に分け、10の悪性腫瘍（悪性リンパ腫、白血病、肺がん、胃がん、大腸がん、肝がん、膵がん、前立腺がん、乳がん、子宮頸がん）に対する治療薬をカテゴリー別に区分し、後方視的に承認品目数の推移を分析したところ、「分子標的薬」と「抗体医薬品」が経時的に大きく増加していることが理由であり、NMEの承認数よりも効能追加の承認数が大きく影響していた。

特に免疫チェックポイント抗体薬の承認数が多く、PD-1など、腫瘍細胞が共通して発現する分子を標的として自己免疫の抗腫瘍効果を増強する医薬品は、適応拡大の機会が多いと考えられた。また、細胞内シグナル伝達阻害薬の多くは分子標的薬として知られているが、一部の分子標的薬は、原発臓器が異なってもシグナル伝達分子の遺伝子変異が共通する複数の悪性腫瘍に対して効能追加の承認が得られていた。

図2に示したように、悪性腫瘍治療薬の経時的な品目数増加にともない、HS 財団調査の治療満足度、薬剤貢献度の増加が認められ、治療薬の進歩と治療薬品目数の増加は、悪性腫瘍性疾患の臨床現場に大きく寄与していると考えられる。しかし、60疾患の治療満足度・薬剤貢献度調査結果¹⁾（図7）を詳細にみると、悪性腫瘍性疾患の領域のように治療満足度、薬剤貢献度が高い象限にある疾患であっても、実際は「医薬品が十分に貢献している」という回答は少ない。どの疾患領域においても依然としてアンメット・ニーズは存在しているといえる。

図7 薬剤（医薬品）の治療への貢献度



出所：ヒューマンサイエンス振興財団 「2019年度 国内基盤技術調査報告書 ―60疾患医に関する医療ニーズ調査（第6回）」

今回の調査で製薬産業は、治療に対して十分な充足度がなかった薬剤抵抗性の遺伝子変異のある悪性腫瘍や、適応条件になかった患者にも治療機会を持続的に提供していることがわかった。「画期

的新薬」の開発はもちろんだが、現在ある医薬品の効能、適応を拡大し、患者のアンメット・メディカル・ニーズに応えていくことは、製薬企業、製薬産業の重要な社会的責務だと考える。

担税にみる製薬産業の事業収益構造

医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎

1. はじめに

製薬産業は、未だ満たされない医療ニーズに画期的な新薬を提供することにより、世界の医療や健康に貢献している産業である。本邦の製薬産業においてもグローバルに科学技術の発展に寄与するとともに、画期的新薬を普及させ、世界全体の医療や健康への貢献を果たしている。

これに加えて、製薬産業は製造業として医薬品を製造し、雇用や収益、担税などの経済に貢献する一面も有している。また、知識集約型産業であることから、医薬品のバルクや製品の製造による付加価値創出のみならず、その技術を供与する、いわゆる、知的所有権をライセンスすることにより、対価を得る事業構造でもある。技術供与対価は事業収益の大きな部分を占めており、これらに基づく経済貢献も見逃せない。

2010年代後半、日本の医薬品市場の成長は横ばいを示し、本邦の製薬企業の国内市場での成長も横ばいである。その一方、国内担税の状況をみると年々増加している¹⁾。すなわち、国内市場から挙げた収益による担税のみならず、海外市場からの収益が重要であることが想定される。

本稿では、日本の製薬産業が日本の経済に貢献する実態の一端として、法人税増加への貢献はどの事業の寄与度が大きいかを調査するため、国内単体企業の会計データを収集し、法人税増加に影響する事業セグメント（海外製品売上、海外技術対価、国内製品売上、国内技術対価）別売上の分

析を試みた。

2. 調査方法

国内製薬企業10社を対象に、2017年度から2021年度の国内・海外の売上高、また、製品あるいは技術対価の売上高、法人税額（税額控除前）について、日本製薬工業協会 産業政策委員会 税制部会実務者会合にてアンケート調査を実施した。それぞれの売上高・法人税額は、国内企業の単体部分で、各企業の事業年度にて集計した。製品売上高には製品のみならず、バルクの売上も含まれ、技術対価にはロイヤルティーの他、マイルストーン収入等が含まれる。それぞれの事業セグメント別の課税所得が法人税額算出の直接的なパラメーターであるものの、データ作成・収集の難易度が高く、実効性が乏しいため、国内外の製品売上高・技術対価を説明変数として検討した。また、いわゆる連結会計の海外売上では国内担税と間接的な関連性の可能性があるため、国内単体企業における事業セグメントの情報を調査対象企業の協力の元、調査・分析を行った。調査対象の10社は、税制部会委員企業である、アステラス、エーザイ、大塚製薬、キッセイ薬品工業、塩野義製薬、住友ファーマ、第一三共、武田薬品工業、田辺三菱製薬、中外製薬とした。

法人税増加への影響度は、固定効果モデルによるパネルデータ分析により推定した。国内売上および海外売上、あるいは、国内製品売上、国内技

1) 製薬協会長記者会見（2023年2月）

https://www.jpma.or.jp/news_room/release/news2023/jtrngf0000001d38-att/20230216_11.pdf（2023.5.31アクセス）

術対価、海外製品売上および海外技術対価を説明変数とした。海外・国内の優先度や進出形態などの企業固有の効果が想定されるため、固定効果モデルを選択し、企業パネルをクラスター変数として調整を加えた。また、年度による景気動向の影響などの年効果をダミー変数として加えた。統計解析には STATA Ver.14を用いた。

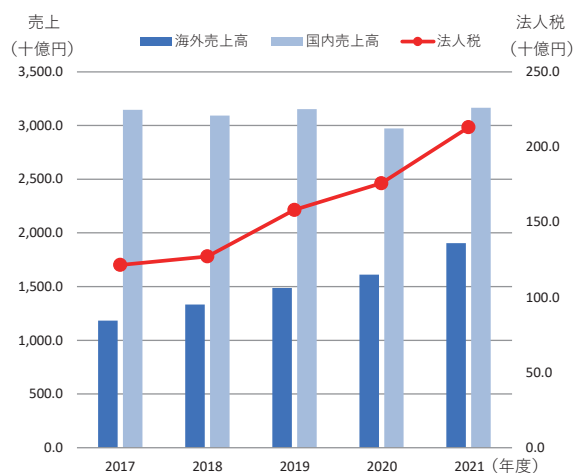
3. 結果

製薬産業の法人税額（10社合算）は、2017年では1,216億円であったものが2021年には2,131億円まで5年間で915億円が増加した（図1）。

これらの法人税額の増加にはどの事業売上が影響しているかを調査するため、図1には、国内企業の単体の売上高を海外売上高と国内売上高に分けたものを示している。

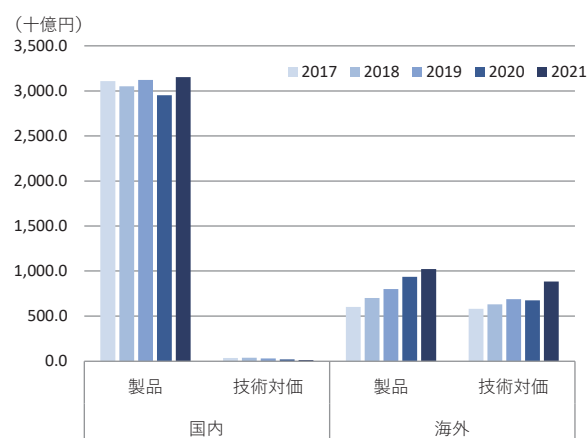
国内売上高は3兆1,457億円（2017年）から3兆1,653億円（2021年）と196億円の微増であった。個社別では4社が増加、6社が減少（データ省略）であった。海外売上高は1兆1,838億円（2017年）から1兆9,049億円（2021年）に7,211億円増加した。個社別では7社が増加、3社が減少（データ省略）であった。海外売上高比率は、27%（2017年）であったものの、2021年には38%に増加していた。

図1 本邦製薬企業（単体）の売上高と法人税



出所：国内製薬企業のアンケート調査をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図2 売上高内訳の年推移



出所：国内製薬企業のアンケート調査をもとに医薬産業政策研究所にて作成

国内・海外売上高をさらに、製品と技術対価に分けた売上高をそれぞれみた（図2）。国内売上高の大半（99%以上）は製品の売上であり、大きな増減は見られなかった。国内の技術対価の売上はほとんどなく、さらに2017年から三分の一以下に減少していた。

海外売上では、製品売上高は6,021億円から1兆216億円に増加し、また、技術対価は5,807億円から8,832億円に増加した。海外売上における技術対価の比率はこの期間で大きな変化はなく、2021年で46%と海外事業の半分近くを占めていた。

これらの製品売上・技術対価の変化による法人税への影響を、パネルデータ（10社、5年の計50サンプル）を用いて、固定効果モデルによる線形回帰分析により推定した（表1、表2）。推定は、海外売上高と国内売上高を説明変数とした場合および海外技術対価、海外製品売上高、国内技術対価、国内製品売上高を説明変数とした場合の2つの場合について行った。

海外売上高と国内売上高を説明変数として分析したところ（表1）、いずれの影響因子ともに法人税の増加に有意（それぞれP値=0.002、P値=0.082）に影響した。また、海外売上高の限界効果（影響因子10億円増加する際の法人税の増加額）は1.50億円と国内売上高の限界効果0.88億円に比べ、2倍弱の影響力を示していた。

また2017年から2021年の間のそれぞれの売上高

表1 海外売上高・国内売上高の法人税への影響

固定効果モデルによる線形回帰分析			限界効果からの推計	
影響因子	限界効果 影響因子10億円増加する 際の法人税の増加額	P 値 ^{#1}	売上増加額 ^{#2} (10億円)	推計法人税増加 額 ^{#3} (億円)
海外売上 (合計)	1.50億円	0.002***	721.1	1,083
国内売上 (合計)	0.88億円	0.082*	19.6	17

#1: ***, **, *はそれぞれ1%、5%、10%水準で有意を示す、#2:2017年から2021年の各影響因子の実際の増加額を示す、#3:各売上増加額（実際）と線形回帰分析から得られた限界効果から推計された法人税増加額の理論値
出所：国内製薬企業のアンケート調査をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表2 海外技術対価・海外売上高・国内技術対価・国内売上高の法人税への影響

固定効果モデルによる線形回帰分析			限界効果からの推計	
影響因子	限界効果 影響因子10億円増加する 際の法人税の増加額	P 値 ^{#1}	売上増加額 ^{#2} (10億円)	推計法人税増加 額 ^{#3} (億円)
海外技術対価	1.93億円	0.023**	302.5	583
海外製品売上	1.03億円	0.102*	419.5	433
国内技術対価	-3.52億円	0.160	—	—
国内製品売上	0.98億円	0.019**	44.6	44

#1: ***, **, *はそれぞれ1%、5%、10%水準で有意を示す、#2:2017年から2021年の各影響因子の実際の増加額を示す、#3:各売上増加額（実際）と線形回帰分析から得られた限界効果から推計された法人税増加額の理論値
出所：国内製薬企業のアンケート調査をもとに医薬産業政策研究所にて作成

の実際の増加額をみると海外売上高で7,211億円、国内売上高は196億円であった。これら売上高に基づく法人税の増加を統計解析の推定から得られた限界効果にて計算するとそれぞれ1,083億円と17億円と法人税増加の98.5%は海外売上高の増加によることが示唆された。

海外技術対価、海外製品売上、国内技術対価、国内製品売上の4つの要素を説明変数として分析したところ（表2）、国内技術対価以外の影響因子は、法人税の増加に有意（それぞれP値=0.023、P値=0.102、P値=0.019）に影響した。

限界効果は、海外技術対価が最も大きく1.93億円であった。次いで海外製品売上、国内製品売上がそれぞれ1.03億円、0.98億円であった。

海外技術対価の限界効果は国内外製品売上に比べて約2倍程度の影響があることが示された。また2017年から2021年の間のそれぞれの売上高の実

際の増加額をみると海外技術対価は3,025億円、海外製品売上は4,195億円、国内製品売上は446億円であった。これら売上高に基づく法人税の増加を推定から得られた限界効果にて計算すると、それぞれ583億円、433億円、44億円と法人税増加は海外技術対価の影響が最も大きいことが示された。

なお、国内技術対価においては、統計学的な有意はみられていないが、限界効果がマイナスの値を示していた。固定効果モデルにより企業固有の効果を最小化する調整を試みたが、法人税額の増減に影響する因子が本推定モデルに説明変数として入っていないためのバイアス、説明変数間が関連することによる多重共線性に基づくバイアス、ゼロ以下にならない法人税額データをゼロ以下も推定する線形回帰による分析のバイアスの影響が想定される。バイアスを完全に除去して推計することは困難であったが、段階的な説明変数による回

帰や非線形性モデルによる推計を行い、本推定結果の頑健性を確認した（データ省略）。

4. まとめと考察

近年の製薬企業の法人税は増加しており、海外技術対価の増加が最も法人税増加への貢献が大きかった。製薬産業の事業収益構造として海外バルク・製品の売上と海外技術対価が約半々であったことは、本邦製薬産業は、製造業としての製品供給に基づく事業と知的財産権の供与に基づく事業の両面を有していると特徴が示された。

医薬品の輸入超過が問題視される場面がある²⁾、³⁾が、貿易統計では医薬品の製品のみの輸出額（2021年度9,353億円）が集計されているため、バルク輸出や技術対価の集計がなされていない。今回、製薬企業10社のみの集計ではあるが、製品・バルク輸出では1兆216億円、技術対価では8,832億円と計1兆9,049億円の海外売上であり、科学技術研究調査統計⁴⁾の技術対価受け取り（2021年度7,110億円）を貿易統計に足し合わせた政府統計の合算額（1兆6,463億円）より多い額であった。製薬産業においては、製品輸出のみならず、バルク輸出や技術輸出によっても外貨獲得⁵⁾をしており、担税への寄与を見過ごさないよう留意が必要であろう。

海外の技術対価の限界効果は、海外製品売上の限界効果の約2倍と高い推定値であった。技術対価の収益は国内における経費は殆どかからないことが想定されるため、ほぼ課税対象の利益となりえるであろう。そのため、海外技術対価の増加が法人税額の増加に最も影響を与えたものと考えられる。

海外技術対価の限界効果の推定値（0.193）から、仮に海外技術対価のすべてが課税所得と想定すると、海外技術対価からの法人税の比率は19.3%と

なることが推察される。これは、調査対象期間の法人税率：23.4%（2017年度）～23.2%（2021年度）に比較して若干低い値であった。すなわち、今回の法人税額の集計値は、理論的な法人税額より少なかったことが推察され、この期間に数社で企業買収等に伴う繰越欠損金の使用が発生したことにより法人税額の減少があったことが一つの要因として考えられる。今回の推計モデルでは、企業固有の影響をクラスター変数として考慮に入れたものの、この要素の法人税額への影響が大きいいため、限界効果が低く見積もられたことが推察される。また、原価や研究開発費等が製品売上から引かれて課税所得となることから、これらの費用増加が影響している可能性も想定される。これらの課税所得に影響する要素は、法人税に対する製品売上の影響度を左右するものであることから、国内・海外の製品売上の限界効果の精度を高めるためには、さらなる要素のデータを収集し、詳細に分析する必要があるだろう。

今回のアンケート調査とそのパネルデータを用いた統計学的な解析結果から、近年の製薬産業の事業構造は、日本国内の売上が横ばいの中、製品売上および技術対価で海外から収益獲得を増やし、事業成長していることが示された。またその成長にもとづき、担税が増加していることが示された。本邦製薬企業の成長かつ日本国益の一端である納税への貢献の面においては、革新的新薬を創出しつづけ、海外事業への拡大が産業と政策が一致する重要な方向性であろう。本邦内で新薬を創製し、その知的財産を保有した上、グローバルでの研究開発やグローバル市場展開を果たす企業努力とともに、日本の基幹産業として育てるためにも、創薬研究からグローバル開発までのバリューチェーンに亘る強力な政策支援がさらに進むことを期待したい。

2) 厚生労働省「医薬品産業ビジョン2021」

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_20785.html（2023.6.1アクセス）

3) 財務省貿易統計

<https://www.customs.go.jp/toukei/info/index.htm>（2023.6.1アクセス）

4) 総務省統計局 科学技術研究調査

<https://www.stat.go.jp/data/kagaku/kekka/index.html>（2023.5.31アクセス）

5) 医薬産業政策研究所「技術輸出からみる国内創製新薬の収益」政策研ニュース No.64（2021年11月）

補足：

1. 固定効果モデルによる回帰分析結果（海外売上高、国内売上高）

xtreg tax ossales jpsales i.year, fe vce (cluster com)

Fixed-effects (within) regression

Number of obs = 50

Group variable: com

Number of groups = 10

R-sq:

Obs per group:

within = 0.7410

min = 5

between = 0.0912

avg = 5.0

overall = 0.1679

max = 5

F (6,9) = 3.54

corr (u_i, Xb) = -0.6926

Prob > F = 0.0439

(Std. Err. adjusted for 10 clusters in com)

法人税	Robust					
	Coef.	Std. Err.	t	P> t	[95% Conf. Interval]	
海外売上高	.1501557	.0345117	4.35	0.002	.0720848	.2282265
国内売上高	.0875599	.0446495	1.96	0.082	-.0134442	.1885641
year						
2018	-1261.814	1606.016	-0.79	0.452	-4894.873	2371.246
2019	-1250.993	2057.701	-0.61	0.558	-5905.835	3403.849
2020	45.38522	1769.8	0.03	0.980	-3958.181	4048.952
2021	-2007.664	2673.658	-0.75	0.472	-8055.9	4040.571
_cons	-32605	15272.77	-2.13	0.062	-67154.4	1944.397
sigma_u	23251.332					
sigma_e	6109.3182					
rho	.93542022 (fraction of variance due to u_i)					

2. 固定効果モデルによる回帰分析結果（海外製品売上高、海外技術対価、国内製品売上高、国内技術対価）

`xtreg tax osr osp jpr jpp i.year, fe vce (cluster com)`

Fixed-effects (within) regression

Number of obs = 50

Group variable: com

Number of groups = 10

R-sq:

Obs per group:

within = 0.7798

min = 5

between = 0.0538

avg = 5.0

overall = 0.1302

max = 5

F (8,9) = 96.13

corr (u_i, Xb) = -0.7103

Prob > F = 0.0000

(Std. Err. adjusted for 10 clusters in com)

法人税	Robust					
	Coef.	Std. Err.	t	P> t	[95% Conf. Interval]	
海外技術対価	.192816	.0702028	2.75	0.023	.0340063	.3516258
海外製品売上高	.1032026	.0564736	1.83	0.101	-.0245494	.2309547
国内技術対価	-.3522581	.2300794	-1.53	0.160	-.8727339	.1682177
国内製品売上高	.0981975	.0343152	2.86	0.019	.0205711	.175824
year						
2018	-848.9848	1992.403	-0.43	0.680	-5356.114	3658.145
2019	-1091.847	2650.894	-0.41	0.690	-7088.587	4904.893
2020	655.3413	2045.671	0.32	0.756	-3972.287	5282.97
2021	-2495.09	2428.937	-1.03	0.331	-7989.726	2999.546
_cons	-33962.96	13043.78	-2.60	0.029	-63470.04	-4455.89
sigma_u	24585.417					
sigma_e	5806.9603					
rho	.94715964	(fraction of variance due to u_i)				

主な活動状況（2023年3月～2023年6月）

3月 1日 政策研ニュース No.68発行

27日 講演

「新薬創出のトレンド変化における本邦医薬品企業の現状と展望」
医薬産業政策研究所 統括研究員 飯田真一郎
（日本薬学会第143年会、シンポジウム：日本が創薬先進国であり
続けるためには：日本の医薬品産業の現状と将来を考える）

政策研メンバー紹介

政策研に新メンバーが加わりましたので、以下に紹介します。

①名前	②所属	③興味のあるテーマ、抱負
〈2023年4月1日より〉		
① 椿原 慎治（主任研究員）		の発展となる政策提言に貢献していきたいと考えています。
② 塩野義製薬株式会社		
③ MRとして入社し、はや30年が経とうとしていますが、この節目をもって医薬産業政策研究所で研究業務にあたる機会をいただけたことを大変名誉に思います。MRとして京都、奈良、営業所長として奈良、東京、神戸、広島と多くの都市の大学病院・基幹病院を中心に医療者への情報提供活動に従事し、それぞれの時代の先端医療の臨床現場に触れることができ、多数の医療従事者の方から多くの医学・薬学的知見を学ばせていただきました。いままで純粋な研究業務にあたったことはありませんが、これまでに得た知識と経験を調査・研究に最大限に活かし、これからの製薬産業の発展に少しでも役立てるような成果を出していきたいと思います。		
〈2023年4月1日より〉		
① 吉浦 知絵（主任研究員）		モダリティの多様化、原材料費の高騰やコントリブリスクといった事業環境変化がある中での安定供給や日本企業の国際競争力といった課題に興味を持っています。政策研では、産業調査研究を通じて広く製薬産業の各種課題の解決につながるようなデータ構築に貢献したいと思います。
② 住友ファーマ株式会社		
③ 入社以来、CMC開発に従事しておりました。		
〈2023年4月1日より〉		
① 森本 潔（主任研究員）		RD部門に研究員として入社後、薬理研究、トランスレーショナル研究、初期臨床開発と一貫してRD畑を歩んでまいりました。その間にはカナダへの客員研究員としての留学、インド関連会社への出向をしました。近年のオミックスデータの利活用による疾患理解の飛躍的進展や、技術革新によるモダリティの多様化などにより、創薬を取り巻く環境は劇的に変化しています。創薬に直接携わった経験から、客観的事実をエビデンスベースで収集しそれらを可視化することで、現在製薬産業が直面している創薬課題をあぶりだし、今後
② 第一三共株式会社		
③ RD部門に研究員として入社後、薬理研究、トランスレーショナル研究、初期臨床開発と一貫してRD畑を歩んでまいりました。その間にはカナダへの客員研究員としての留学、インド関連会社への出向をしました。近年のオミックスデータの利活用による疾患理解の飛躍的進展や、技術革新によるモダリティの多様化などにより、創薬を取り巻く環境は劇的に変化しています。創薬に直接携わった経験から、客観的事実をエビデンスベースで収集しそれらを可視化することで、現在製薬産業が直面している創薬課題をあぶりだし、今後		

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
2023年7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

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

無断転載を禁ずる