

医薬産業政策研究所

政策研ニュース No.72

OPIR Views and Actions

2024年7月

目次

目で見る製薬産業

国内未承認薬の最新動向

—2023年の日米新薬承認状況をふまえて—

医薬産業政策研究所	主任研究員	吉浦	知絵
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	主任研究員	森本	潔…… 1

Points of View

がん領域における研究の試料・情報の入手経路

医薬産業政策研究所	主任研究員	岡田	法大…… 11
-----------	-------	----	---------

製薬企業が医療情報の利活用時に求める要素

医薬産業政策研究所	主任研究員	渡邊奈都子
医薬産業政策研究所	主任研究員	岡田 法大…… 20

政策研だより

主な活動状況（2024年3月～2024年6月）	…… 28
レポート・論文紹介（2024年3月～）	…… 28
政策研メンバー紹介	…… 30

国内未承認薬の最新動向 —2023年の日米新薬承認状況をふまえて—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦 知絵
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 主任研究員 森本 潔

要約

- 本稿では、2012年から2023年に米国FDAが承認したNMEを対象とし、日本国内の未承認薬の状況について調査した。
- 米国NMEに対する国内未承認薬の割合は、2016年から2020年末調査時点にかけて毎年増加し、2021年末調査時点以降は64.4%～67.5%の水準で高止まりしていた。
- 2023年末時点の未承認薬の国内開発状況は、“国内開発情報なし”が80品目、“国内開発中”が77品目であった。
- 2018年末時点の未承認薬ではPhase3実施中が26品目であったが、2023年末時点の未承認薬では55品目となり開発後期品目が増加した。
- 2023年末時点の国内未承認薬の米国承認取得企業の分類について、EBP由来品目の割合は約5割であった。“国内開発情報なし”かつEBP由来は2018年末時点の未承認薬では29品目であっ

たが、2023年末時点の未承認薬では45品目に増加した。

- 2023年末時点の国内未承認薬の疾患分類では、品目数の多い順に抗悪性腫瘍剤、神経系用剤、消化管及び代謝用剤、全身性抗感染症薬であった。“国内開発情報なし”品目数の多い順では順序が入れ替わり、神経系用剤、抗悪性腫瘍剤、全身性抗感染症薬、消化管及び代謝用剤となった。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、2021年7月の政策研ニュース第63号¹⁾において他の国では承認されているが日本では承認されていない「国内未承認薬」に拡大の兆候が見られることを報告し、その後も未承認薬の分析を重ね、ドラッグ・ラグ/ロスについて問題提起をしてきた^{2、3、4、5、6、7、8、9)}。この問題に対し、昨今では多方面で論説を目にす

- 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・ニーズに込められているか？」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1 - 希少疾患 -」政策研ニュース No.69 (2023年7月)
- 7) 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)
- 8) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：日本承認品のラグ実態の分析」政策研ニュース No.70 (2023年11月)
- 9) 医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：日本承認品の長期ラグの要因分析」政策研ニュース No.71 (2024年3月)

る機会が増え、昨年度は薬価制度改革¹⁰⁾や薬事政策¹¹⁾等、具体的な取り組みが進められた。本稿では、これまで報告してきた国内未承認薬について最新動向を把握すべく2023年の新薬承認状況もふまえて再調査し、国内未承認薬数の推移や特徴など報告する。

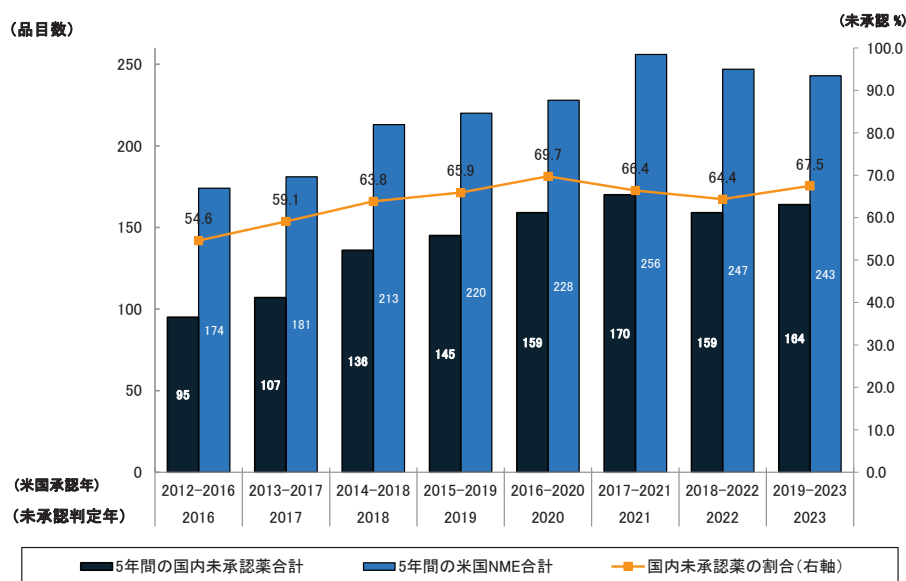
2. 調査方法

国内未承認薬数の調査対象は2012年から2023年に米国でNMEとして承認された品目とし、日本の承認状況と比較することで国内未承認薬を特定した。具体的には、毎年FDAから発行される報告書「New Drug Therapy Approvals¹²⁾」に掲載される各年の新規化合物（NME：New Molecular Entity）を米国NMEとして集計し、国内承認状況については毎年PMDAから発行される新医薬品の承認品目一覧¹³⁾を参考に調査した。なお本稿

では前述のとおりFDAの報告書「New Drug Therapy Approvals¹²⁾」から品目を集計したため、ワクチンと再生医療等製品に区分される品目は調査対象に含まない。

次に、国内未承認薬数の年次推移を確認するため、調査時点毎（各年12月末日）の国内未承認薬数および米国で承認されたNME数に対する日本国内での承認率を集計した（補足1）。各年の集計では年毎の国内未承認薬数の増減があり変化の傾向を解釈することが困難であったため（補足1、2）、本稿でも2021年7月の政策研ニュース第63号¹⁾の解析と同様に本データセットを用いて調査時点毎に国内未承認薬数を集計し、2016年から2023年の期間で5年分の合計値として算出した。比較として、米国で承認されたNME数の5年分の合計値についても同様に算出した。加えて、米国NME数に対する国内未承認薬数の割合を算出した（図1）。

図1 米国NME数に対する国内未承認薬数とその割合の年次推移（5年合計値）



注：2012年から2023年に米国で承認されたNMEを対象とし、各年12月末日時点未承認判定年として5年分の国内未承認薬数の合計値を調査した。

出所：PMDA及びFDAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

10) 厚生労働省 中医協総会 参考資料 R5.12.20 <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001180533.pdf>

11) 厚生労働省 令和5年12月25日付け医薬薬審発1225第2号医薬品審査管理課長通知
<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T231226I0020.pdf>

12) Food and Drug Administration (FDA)、Novel Drug Approvals at FDA（参照：2024/05/13）
<https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/novel-drug-approvals-fda>

13) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、承認情報（参照：2024/05/13）
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>

なお、2021年7月の政策研ニュース第63号¹⁾では、日米欧のNMEを調査対象に欧州と米国のいずれかでの承認に対する国内未承認薬数及び割合を算出していたが、本稿では調査対象を米国NMEに限定し、米国でNMEとして承認されていない品目は調査対象外とした。承認時のNME該否は日米欧各極で完全一致しないため、2021年7月の政策研ニュース第63号¹⁾と同じ方法では初回承認時に非NMEであった品目が他の地域で後にNMEとして承認された場合は初回承認年の集計を遡及的に修正する必要がある、過去の集計結果と比べて品目数が変わるケースがあった。これに対して本稿では、今後も本調査を継続的に実施することを念頭におき、平易かつ納得性の高い指標とすべく調査対象を米国NMEに限定して集計し直した。なお、この変更により欧州のみで承認を受けた品目は調査対象外となる。しかし2021年7月の政策研ニュース第63号¹⁾で報告したように、2010年から2020年までに欧米で承認された品目における国内未承認薬のうち欧州のみの承認品目（米国未承認）は8%に留まり、欧州承認品目の多くが米国承認を取得することから、本稿で変更した調査方法でも過去の医薬産業政策研究所の調査と齟齬のない結果になると考えている。

調査対象とした各品目の国内開発状況及び疾患分類については、「明日の新薬（テクノミック制作）」の各品目情報に記載されたATC分類を参照した。また、調査対象とした各品目について米国での承認取得企業が新興企業（以下EBP: Emerging BioPharma）であるかを分類する際には、Evaluate Pharma[®]（2024年3月時点）の情報をもとに、2018年または2023年末時点で創立30年以内、かつ2018年または2023年の売上げが5億米ドル未満の企業をEBPとして分類した。

なお、本調査は承認数や開発状況の観点からの分析であり、日本国内の医療ニーズを考慮した調査でないことは調査の前提として事前に提示しておく。

3. 結果

3-1. 米国NMEに対する国内未承認薬数の推移

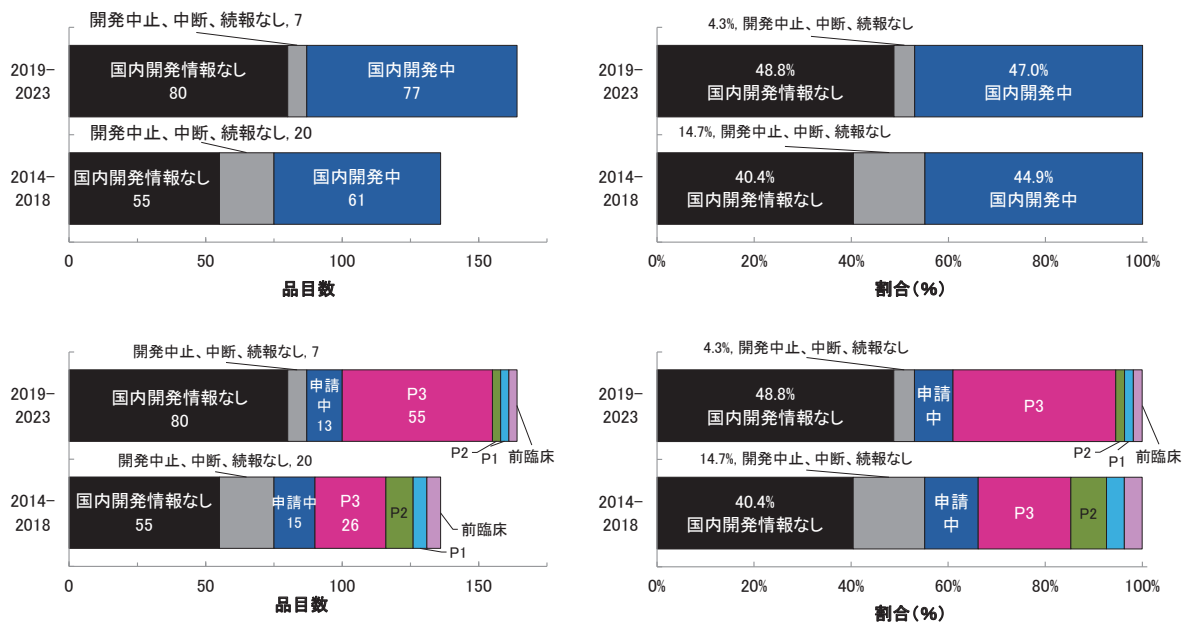
図1に示したとおり年次推移を追った結果、米国NME数の5年合計値は2016年末時点で174品目、2020年末時点では228品目、2023年末時点では243品目と増加していた。これに対し、国内未承認薬数の5年合計値は2016年末時点では95品目、2020年末時点では159品目、2023年末時点では164品目であった。米国NME数に対する国内未承認薬の割合は2016年から2020年末調査時点にかけて毎年増加し（54.6%→69.7%）、約7割が国内未承認という水準に達していたが、その後2021年末調査時点で66.4%となり、以降6割台で推移している（66.4%→64.4%→67.5%）。

本稿では、直近5年分として2023年末時点の国内未承認薬164品目に対してその特徴の分析結果を報告する。また、その前の5年分となる2018年末時点の国内未承認薬136品目の分析結果を比較対象とした。なお、2023年末時点の164品目は2019年から2023年に米国承認を受けたNMEにおける国内未承認薬であるのに対し、2018年末時点の136品目は2014年から2018年に米国承認を受けたNMEにおける国内未承認薬であるため各群の品目の重複はない。

3-2. 未承認薬の国内開発状況

2023年末時点および2018年末時点の国内未承認薬の国内開発状況の内訳を図2に示した。2023年末時点の国内未承認薬のうち国内開発中の品目（申請中を含む）は164品目中77品目（47.0%）であった。2018年末時点の未承認薬では136品目中61品目（44.9%）が国内開発中であったことと比較すると、品目数、未承認薬全体における割合ともに増加した。これらの品目は、承認時期の「ラグ（遅延）」はあるものの国内での臨床開発は進行中であるため、将来的に国内で薬事承認される可能性がある。また、国内開発中の品目をその開発段階別にみると、2023年末時点の未承認薬では2018年末時点の未承認薬と比較して、Phase 2以前の初期開発品目の数、割合が減少し、Phase 3段階の開発後期品目の数、割合が増加していた。

図2 未承認薬の国内開発状況



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注1：図中“2019－2023”は2019－2023年の米国 NME に対する2023年末時点の国内未承認薬を、“2014－2018”は2014－2018年の米国 NME に対する2018年末時点の国内未承認薬を示した。

注2：上段の“国内開発中”の開発段階別内訳を下段で示した。2019－2023年の米国 NME に対する国内未承認薬については、2023年末時点の開発状況、2014－2018年の米国 NME に対する国内未承認薬については、2018年末時点の開発状況を示した。

国内開発情報のない品目は2018年末時点で55品目（40.4%）であったのに対し、2023年末時点では80品目（48.8%）と増加していた。このように国内で開発されていない国内未承認薬について医薬産業政策研究所ではドラッグ・ロス品と定義しており⁸⁾、この80品目と“開発中止、中断、続報なし”の7品目は新たに国内開発が開始されない限り今後も「国内未承認薬」として残る。

3-3. 未承認薬の米国承認取得企業の特徴

医薬産業政策研究所では過去の調査において日本に足がかりのないEBP由来の品目で国内未承認薬割合が高いことを報告してきた^{3、4)}。昨今の議論においてもEBPによる新薬の増加が国内未承認薬の増加の一因とされており、EBPとの協業を促進するための対策¹⁴⁾が進められている。本稿で分析対象とした2023年末時点の国内未承認薬と、2018年末時点の国内未承認薬のうち企業情報が取

得できた品目について、米国承認時の承認取得企業がEBPであった品目数と割合を図3に示した。

EBP由来の品目数は、2023年末時点で71品目であり、2018年末時点の62品目から増加した。EBP由来の割合は、2023年末時点で46.4%であり2018年末時点の47.3%と同水準であった。

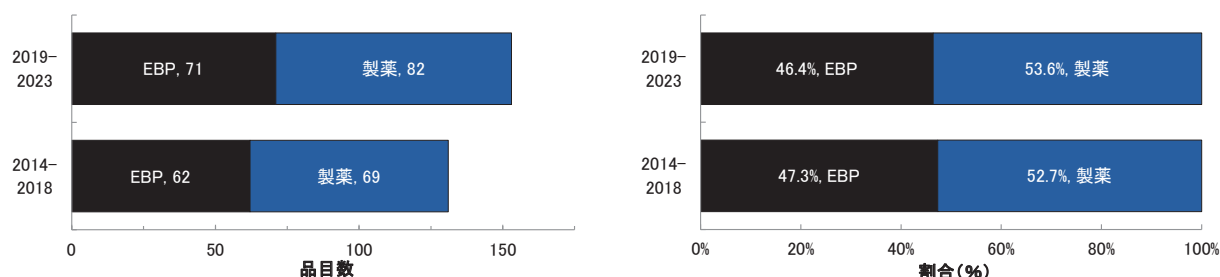
3-4. 米国承認取得企業別（EBP由来・製薬由来）の国内未承認薬開発状況

3-2で示した未承認薬の国内開発状況について、企業情報を取得できた品目で米国承認時の承認取得企業別に図4に示した。

EBP・製薬由来別に未承認薬の国内開発状況を見ると、2023年末時点のEBP由来71品目のうち開発情報がないものは45品目（63.4%）であり、2018年末時点のEBP由来62品目中29品目（46.8%）に比べ品目数、割合ともに増加した。一方、2023年末時点のEBP由来71品目のうち開発中は22品目

14) 厚生労働省 PMDA の海外拠点設置について R5.12.27 <https://www.mhlw.go.jp/content/10601000/001184914.pdf>

図3 国内未承認薬の米国承認取得企業の特徴（EBP 由来の品目数・割合）

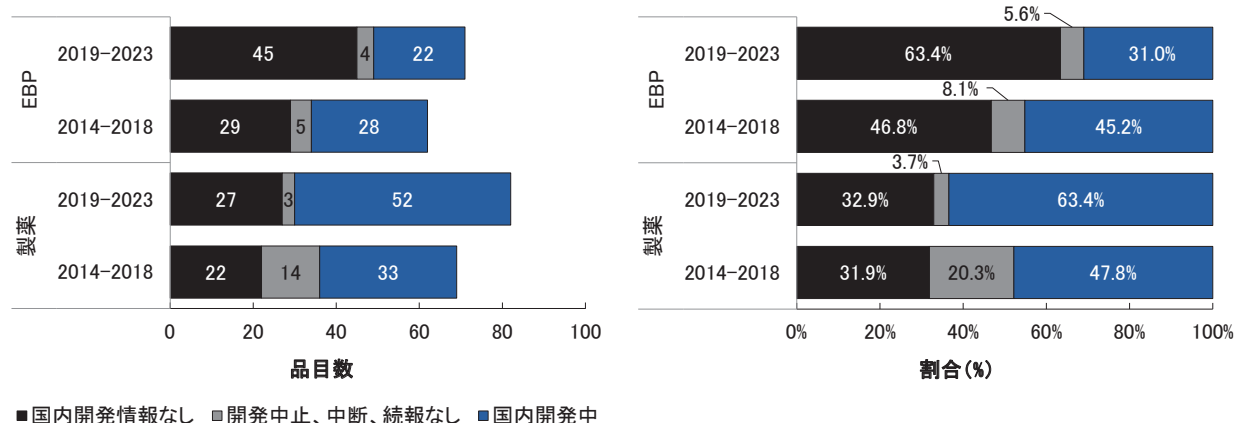


出所：Evaluate Pharma[®]（2024年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注1：図中“2019-2023”は2019-2023年の米国NMEに対する2023年末時点の国内未承認薬を、“2014-2018”は2014-2018年の米国NMEに対する2018年末時点の国内未承認薬を示した。

注2：Evaluate Pharma[®]（2024年3月時点）の情報をもとに、2018年または2023年末時点で創立30年以内、かつ2018年または2023年の売上げが5億米ドル未満の企業をEBPとして分類した。

図4 米国承認取得企業別（EBP・製薬）の国内未承認薬開発状況



出所：Evaluate Pharma[®]（2024年3月時点）、「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注1：図中“2019-2023”は2019-2023年の米国NMEに対する2023年末時点の国内未承認薬の開発状況、品目数、割合を、“2014-2018”は2014-2018年の米国NMEに対する2018年末時点の国内未承認薬の開発状況、品目数、割合を示した。

注2：Evaluate Pharma[®]（2024年3月時点）の情報をもとに、2018年または2023年末時点で創立30年以内、かつ2018年または2023年の売上げが5億米ドル未満の企業をEBPとして分類した。

(31.0%)であり、2018年末時点のEBP由来62品目中28品目(45.2%)に比べ品目数、割合ともに減少した。

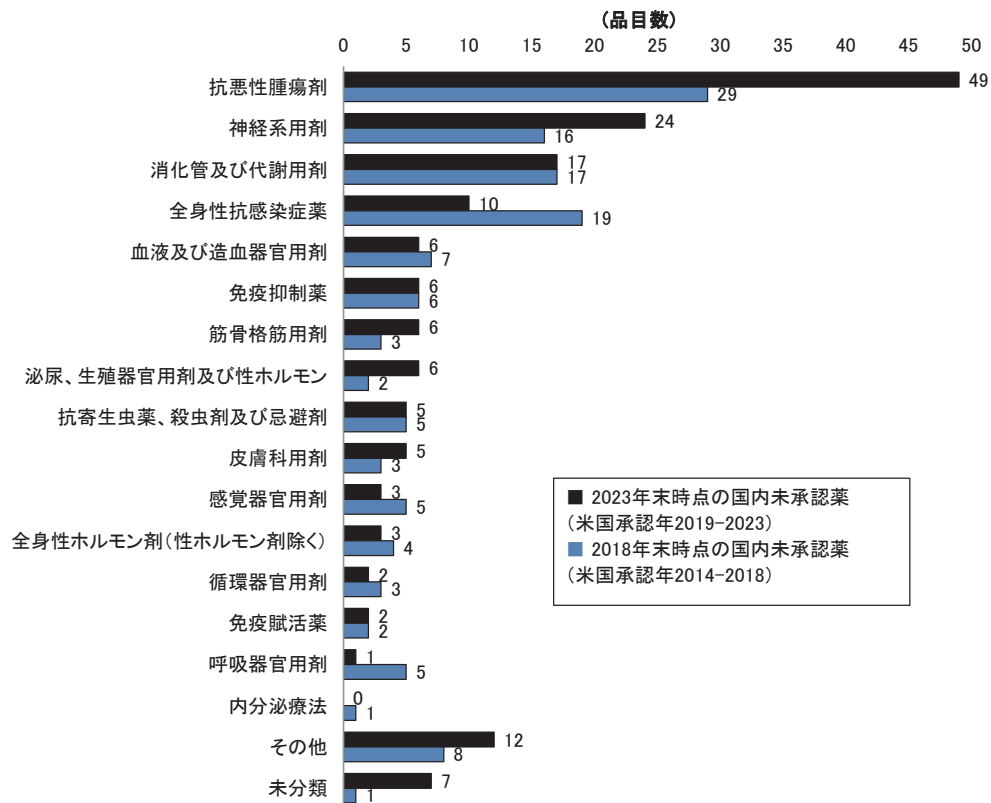
3-5. 国内未承認薬の対象疾患分類

図5には、2023年末時点と2018年末時点の国内未承認薬について疾患分類別に品目数を示した。2023年末時点の未承認薬では、抗悪性腫瘍剤が49品目と最多であり、神経系用剤、消化管及び代謝用剤、全身性抗感染症薬と続いた。米国で承認されたNME数に対する国内未承認薬の割合は、抗悪性腫瘍剤(74.2%)、神経系用剤(75.0%)、消化

管及び代謝用剤(68.0%)、全身性抗感染症薬(66.7%)であった(掲載図なし)。2018年末時点の未承認薬で多かった全身性抗感染症薬の品目数が2023年末時点では減少した。

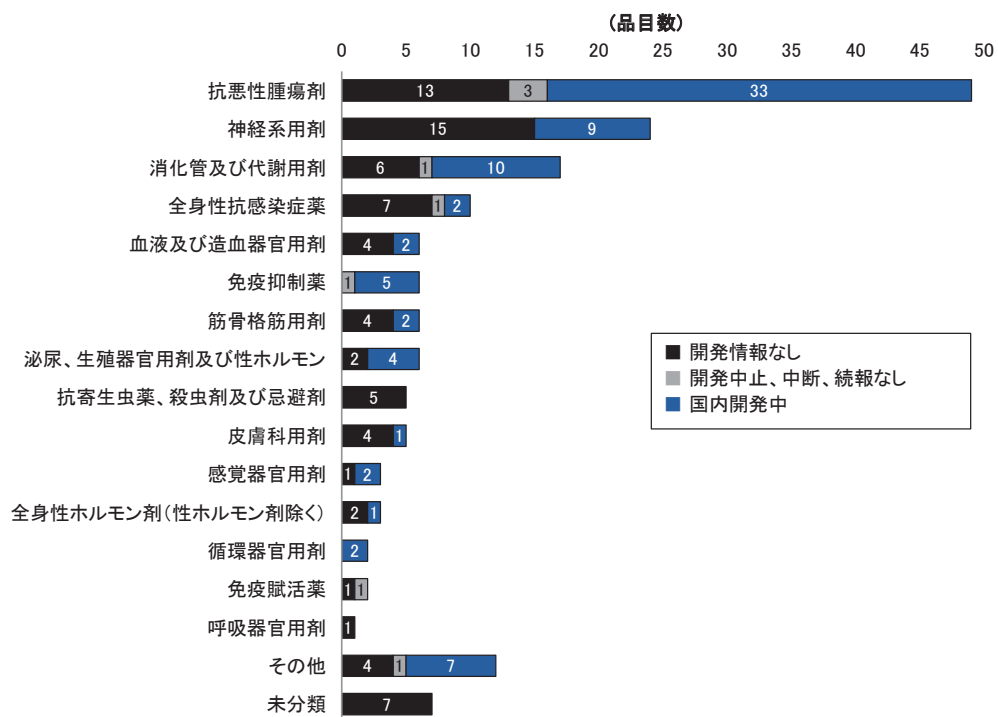
また、図6には、2023年末時点の国内未承認薬について疾患分類と国内開発状況分類別に品目数を示した。2023年末時点の国内未承認薬で品目数が最多であった抗悪性腫瘍剤のうち、国内開発情報がない品目は13品目のみで、残り36品目は国内開発が着手された品目であった。未承認薬のうち国内開発情報がない品目に限ってみると、品目数の多い順に神経系用剤(15品目)、抗悪性腫瘍剤

図5 国内未承認薬の対象疾患分類



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図6 未承認薬の対象疾患分類及び国内開発状況



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

(13品目)、全身性抗感染症薬（7品目）、消化管及び代謝用剤（6品目）となっていた。

4. まとめ・考察

本稿では2012年から2023年に米国FDAが承認したNMEを対象として日本国内の未承認薬の状況を調査した。米国NMEに対する国内未承認薬数の5年合計値は、2016年末時点では95品目、2020年末時点では159品目、2023年末時点では164品目と増加した。国内未承認薬の割合は、2016年から2020年末調査時点にかけて毎年増加し、2021年末調査時点以降は64.4%～67.5%の水準で高止まりしていた（図1）。

次に、2019年から2023年に米国承認され2023年末時点で国内未承認であった164品目、および2014年から2018年に米国承認され2018年末時点で未承認薬であった136品目の合計300品目について開発状況、欧米承認取得企業、疾患分類を調査した。2023年末時点、2018年末時点で未承認であった品目群それぞれの特徴の変化と、冒頭で述べた未承認薬に対する具体的な取り組みに期待される効果について以下考察したい。

2023年末時点の国内未承認薬164品目のうち国内開発中の品目は77品目あり、2018年末時点の未承認薬で国内開発中であった61品目と比較するとPhase 2以前の品目数が減少してPhase 3段階にある品目数が増加した（図2）。米国で承認されたNME数に対する割合としても、2023年末時点でPhase3実施中は22.6%（243品目中55品目）であり、2018年末時点のPhase3実施中12.2%（213品目中26品目）と比較して増加した。Phase2以前の開発初期品目の減少幅はEBP由来の方が大きく（製薬由来7→4品目、EBP由来13→5品目）、Phase3段階の品目数は製薬由来、EBP由来ともに増加した（製薬由来18→38品目、EBP由来8→14品目）（掲載図なし）。一部のEBP由来品目も含め、米国開発に並行して国内承認に必要なデータを取得するなど日本での開発が早期化している可能性や、国内の追加試験としてPhase1のみで早期に承認に至るケースが増加した可能性などが考えられた。このような変化はドラッグ・ラグの期間短縮

という観点で改善傾向ととらえることができるかもしれない。一方で2024年3月の政策研ニュース第71号⁹⁾では、長期のドラッグ・ラグ発生に影響する因子として欧米承認後の日本での追加試験について述べた。2023年末時点の未承認薬では、米国承認後に国内開発中の品目が依然として77品目ある状態である（図2）。今後は国際共同治験への日本人参加促進などにより、国内開発中の未承認薬がより早期に進捗し国内承認されることで、未承認薬数としても減少していく状況が望まれる。

国内開発情報のない未承認薬について、2023年末の未承認薬（80品目、48.8%）では2018年末時点の未承認薬（55品目、40.4%）と比較して品目数・割合ともに増加した（図2）。さらに、EBP由来品目に着目した場合も国内開発情報のない未承認薬の品目数、割合は増加した（29品目、46.8%→45品目、63.4%）。逆に、EBP由来品目における国内開発中の未承認薬は品目数、割合ともに減少した（28品目 45.2%→22品目 31.0%、図4）。EBP由来で国内開発情報のない未承認薬は、米国で承認されたNME数に対する割合として見た場合も2023年末時点で18.5%（243品目中45品目）であり、2018年末時点の13.6%（213品目中29品目）に対して増加した。日本に足場のないEBP由来の品目などで国内開発着手には依然としてハードルがあることが考えられる。

2022年7月の政策研ニュース第66号³⁾では、EBP由来品目のピボタル試験への日本組み入れが少ない要因について治験手続きの煩雑さの課題等を考察し、EBP品目の国際共同治験への日本人参加促進の施策、日本市場展開を意図するEBPとの早期提携を促進する施策などの重要性を述べたが、昨今では薬事制度改革に加えてPMDAの海外拠点設置¹⁴⁾といった米国EBPにアプローチするための取り組みが新設されており、これらの施策が実際に作用してEBP由来品目の早期国内開発着手、ひいては未承認薬の減少につながることを期待したい。

EBP由来のみならず製薬企業由来で国内開発が行われていない未承認薬も存在した（図4）。未承認薬の課題を検討する際に国内市場における経済

合理性の観点から議論されることがあるが、医療ニーズがあるにも関わらず経済性の観点で国内開発に至らない品目をなくすることは重要と考える。2022年7月の政策研ニュース第66号³⁾では薬事・臨床試験環境の課題に加え、日本展開の期待事業価値の課題とEBP品目導入に対するインセンティブや収益を担保するための政策の重要性について述べた。令和6年度薬価制度改革¹⁰⁾では、迅速導入加算の新設など革新的新薬のイノベーションの適切な評価に向けた変更点が盛り込まれ、これらによりEBP由来、製薬由来に限らず現在国内開発のない未承認薬の日本での事業展開促進が期待されるが、経済合理性を担保する施策については継続的な議論が続けられることも合わせて期待したい。

2023年末時点の未承認薬の疾患分類では、新薬全体に占める割合の多い抗悪性腫瘍剤の品目数が最多であり、神経系用剤、消化管及び代謝用剤と続いた。また、“国内開発情報なし”に限った場合には神経系用剤が最多であり、次いで抗悪性腫瘍剤、全身性抗感染症薬と続いた(図6)。全体の割合と“国内開発情報なし”の割合に差が生じた一因として、抗悪性腫瘍剤の病態への理解など研究開発が進歩した良い面が反映されている可能性が考えられる。医薬品の研究開発の実態に関する医薬産業政策研究所の調査¹⁵⁾では、抗悪性腫瘍薬の開発パイプライン数が全体の半数程度を占めるなどこの領域の研究開発が活発であることを報告している。一方で、“国内開発情報なし”の品目が多かった神経系用剤は、グローバル製品を対象に医薬品開発の成功確度について述べた文献¹⁶⁾において最も成功確度の低い分野の一つと報告されてい

る。また、小児用医薬品についても治験の困難さ等の理由によるドラッグ・ロスが課題視されており¹⁷⁾、このように開発難易度の高い疾患領域や国内患者数の少ない小児、希少疾病などに対する医薬品についても遅滞なく国内開発が進められるような施策が重要と考えられる。2024年初に希少疾病用医薬品等の指定に関する変更¹⁸⁾、小児用医薬品の開発計画策定推奨¹⁹⁾といった通知が発出されているが、これらの施策の国内開発促進への効果を期待するとともに、効果検証を含めた継続的な議論が行われることを期待する。

5. おわりに

本稿では、2023年の新薬承認情報もふまえて最新の国内未承認薬の状況を報告した。ここ2～3年の未承認薬数の増加傾向は落ち着いているもののいまだ高水準であり、日本国内で欧米に比肩する高水準の医薬品アクセス環境を維持するという観点では今後も注視していく必要がある。

2023年末時点の未承認薬の分析から、依然としてEBP由来品目で開発未着手の品目数が多い点など、今般のドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロス対策の方向性に合致した課題が残存することがわかり、今後これらの対策が実際に作用して未承認薬数の減少として効果が表れることを期待する。

補足1 国内未承認薬数と米国NMEの国内承認率の集計

分析に用いたデータセットは以下の通りである。2012年から2023年の米国および日本のNME承認情報を用い、調査時点毎(各年12月末日)に米国の初承認年ごとの国内未承認薬数および米国

15) 医薬産業政策研究所「医薬品の研究開発の実態～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～」リサーチペーパーNo.82(2024年3月)

16) Helen Dowden and Jamie Munro, Trends in clinical success rates and therapeutic focus, Nature reviews drug discovery, 18 (7), 495-496, 2019

17) 厚生労働省 令和6年4月24日 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会報告書 <https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

18) 厚生労働省 令和6年1月16日付け医薬薬審発/医薬機審発0116第1号医薬品審査管理課長/医療機器審査管理課長通知 <https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T240117I0070.pdf>

19) 厚生労働省 令和6年1月12日付け医薬薬審発0112第3号医薬品審査管理課長通知 <https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T240115I0020.pdf>

で承認された NME の日本国内での承認率を集計した。

各年の太線で囲った数値は、その年の米国NME数に対する国内未承認薬数および国内承認率である。各年の米国 NME 数には増減があり、新規に

発生する国内未承認薬数も年によってばらつきが生じる。本稿では、この1年ごとのばらつきによらず年次推移を追うことを目的に、米国 NME 数および国内未承認薬数については5年分の合計値として算出することとした。

補足 1 国内未承認薬数と米国 NME の国内承認率の集計

調査時点	米国初承認年											
年	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
2012	34 13%											
2013	30 23%	21 22%										
2014	28 28%	16 41%	31 24%									
2015	27 31%	13 52%	25 39%	34 24%								
2016	20 49%	8 70%	22 46%	25 44%	20 9%							
2017	19 51%	7 74%	22 46%	22 51%	18 18%	38 17%						
2018	18 54%	6 78%	18 56%	21 53%	17 23%	29 37%	51 14%					
2019	18 54%	5 81%	17 59%	19 58%	14 36%	27 41%	42 29%	43 10%				
2020	17 56%	5 81%	17 59%	18 60%	14 36%	26 43%	39 34%	37 23%	43 19%			
2021	15 62%	5 81%	17 59%	17 62%	13 41%	23 50%	34 42%	33 31%	35 34%	45 10%		
2022	15 62%	5 81%	17 59%	16 64%	13 41%	21 54%	31 47%	31 35%	34 36%	38 24%	25 32%	
2023	15 62%	5 81%	17 59%	15 67%	13 41%	21 54%	29 51%	29 40%	34 36%	34 32%	23 38%	44 20%
米国 NME 承認数	39	27	41	45	22	46	59	48	53	50	37	55

上段：未承認薬数
下段：国内承認率

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

注 1：国内承認率は下記の式より算出した。

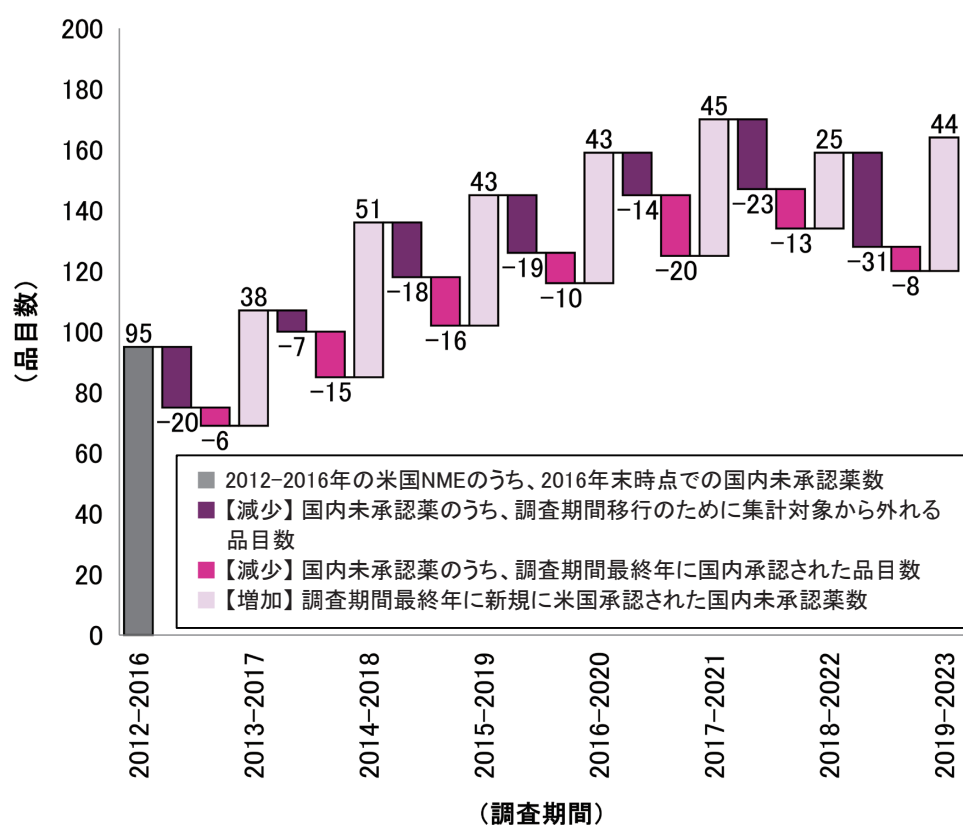
$$\text{国内承認率} = ((\text{各年の米国 NME 承認数} - \text{国内未承認薬数}) \div \text{各年の米国 NME 承認数}) \times 100$$

補足2 国内未承認薬数の5年合計値の推移の内訳

前述のとおり本稿では国内未承認薬数を5年合計値として集計している。年次推移として、前年との差異を生じる要因としては、増加分として新規の国内未承認薬があり（補足1の太線内数値に相当）、減少分としては米国承認が5年前であった未承認薬数が国内未承認の状態のまま集計から外れ、また前年に国内で承認を受けた数が集計から外れる。下図では、国内未承認薬数の5年合計値の前年との差異について2016年末時点の未承認薬

数を起点として内訳を示した。いずれの要素も1年ごとでは増減があり、1年ごとの増減から年毎の傾向を把握することは困難であった。例えば、図1では2021年末調査時点以降で未承認の割合が高止まりしたことを示したが、2021年末時点は前年度の承認品目が20品目と比較的多く、2022年末調査時点は米国で承認されたNMEにおける国内未承認薬の追加分が少なかった、というように1年ごとの変化に与える影響の大きさは年毎で異なっていた。

補足2 国内未承認薬数の5年合計値の推移の内訳



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

がん領域における研究の試料・情報の入手経路

医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田法大

要約

- 製薬企業は、ヒト由来の試料・情報を利用した研究を数多く行っているが、これらの試料・情報は、製薬企業が主体的に取得を行うことが困難であるため、生体試料の分譲や医療・生体情報の管理を行う外部の機関や、医療機関との密な連携が重要となっている。
- 今回の調査では悪性腫瘍の領域に注目して、製薬企業が研究に利用している試料・情報の入手経路の分布について学術論文を基に調査した。
- ヒト由来の試料・情報を利用した研究において、最も多く利用されていた入手経路は、前向きの臨床試験やコホート研究であり、研究全体の約37%を占めていた。さらに、研究利用のために試料や情報を収集し、広く提供する組織（生体試料サプライヤー、データベースプロバイダ）を経由した利用が続いた。
- ヒト由来の情報の入手先の中で、製薬企業からの利用頻度が高く、情報入手の可否が外部の医療情報提供環境の整備状況に大きく依存する「データベースプロバイダ経由の入手」と「データポータル・プラットフォームの利用」に注目すると、国内においても提供環境の整備に向けた活動が確認された。

1. はじめに

製薬企業では、基礎的な研究に留まらず、臨床試験や市販後の調査研究を含む医薬品評価の全て

の段階で、ヒト由来の試料・情報を利用した研究を行い、医薬品の有効性や安全性に関する科学的根拠を導き出している。ヒト由来の試料は、主に血液、体液、組織、細胞、排泄物及びこれらから抽出したDNA等を指し、情報は、研究対象者の診断及び治療を通じて得られた傷病名、投薬内容、検査又は測定の結果等、人の健康に関する情報と遺伝情報を指す¹⁾。

これらの試料・情報は、製薬企業が医薬品に関する研究を行う上で不可欠なものである一方で、製薬企業が主体的に取得を行うことが困難であるため、生体試料の分譲や医療・生体情報の管理を行う外部の機関や、医療機関の協力が必要となる。製薬企業が質の高い科学的根拠を導き出すためには、研究の目的に合致する試料・情報の入手が必須となるため、これらの機関と連携を密に行っていくことが求められている。

本稿では、製薬企業が関与する研究の試料・情報の供給源を概観するために、近年最も多くの新薬の開発が行われており、試料・情報を提供するための環境整備が他の領域に先行して進められている悪性腫瘍の領域に注目して調査を行った。後半では、製薬企業からの利用頻度が高く、情報入手の可否が外部の医療情報提供基盤の整備情報に大きく依存する医療・生体情報の利用環境に注目して、本邦と海外における提供環境の整備状況についても触れる。

1) 厚生労働省、人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kenkyujigyou/i-kenkyu/index.html>

2. 調査方法

製薬企業における研究に用いられたヒト由来の研究試料・情報の入手経路について、公開されている学術論文を基に実態を調査した。悪性腫瘍領域に関連する論文の特定には Web of Science[®] クラリベイトのトピック検索を利用した（検索語²⁾：“Cancer” OR “Tumor” OR “Oncology” OR “Carcinoma” OR “Sarcoma” OR “Myeloma” OR “Leukemia” OR “Lymphoma”）。上記の検索に該当する論文を2023年に最も多く公表していた悪性腫瘍領域の研究に注力している製薬企業5社（米国拠点3社、英国拠点1社、スイス拠点1社）を特定し、該当する製薬企業の従業員が著者として含まれる2023年に公表された原著論文を今回の調査対象として収集した。研究に利用された試料・情報の入手経路については、各論文の研究方法に関する項の記載から特定した。今回の調査では、研究で利用された試料・情報の全体像と分布を把握するために、株化されたヒト細胞や選好を調査するアンケートに伴う属性情報など容易に入手可能な

試料・情報も含めて幅広く含めて分類を行った。本稿で示す調査は、対象の企業の国籍や開発パイプラインの状況が結果に影響を与える可能性があり、製薬企業全体の利用実態を定量的に示すものではない。

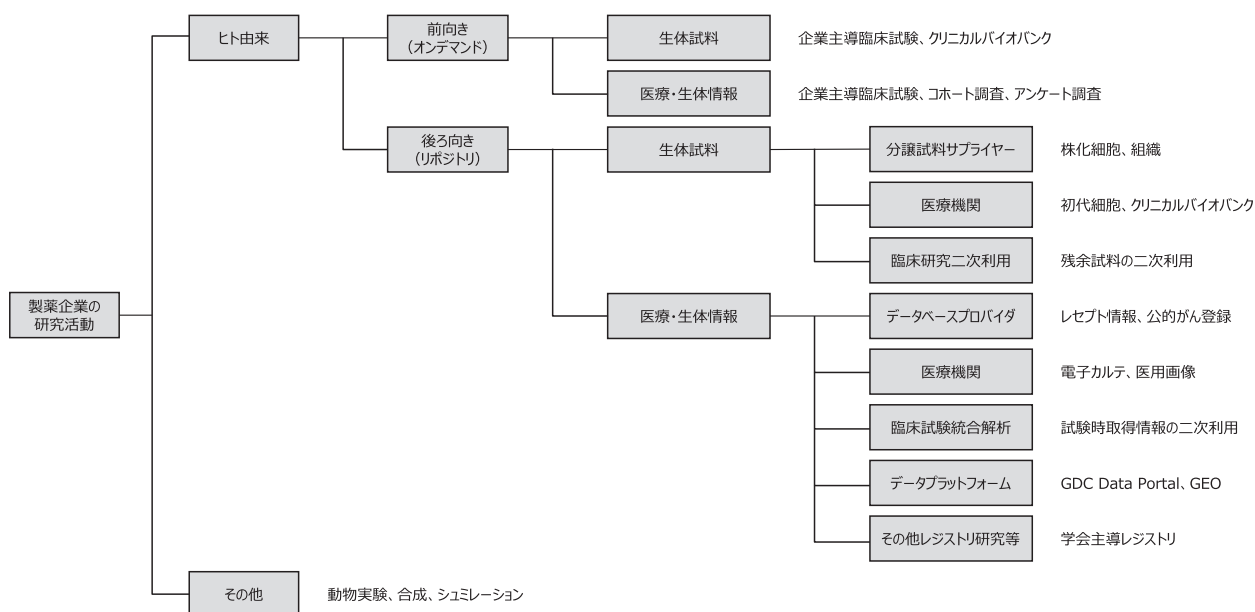
3. 結果

3-1. 研究に利用される試料・情報

検索の条件に合致した論文は1,351報であった。それらの論文から内容の確認が困難であった7報を除いた1,344報を今回の調査対象とした。企業単位の論文数は約280～350報（調査対象の企業間の共著を含む）の範囲であった。

今回の調査対象の論文で利用されたヒト由来の試料・情報を入手経路という観点で大別すると図1に示すように分類することができる。入手方法は、必要な試料・情報を研究の目的に沿って前向きに収集する方法と、既に収集されている試料・情報から、研究の目的に合致するものを選択して利用する方法に大きく分類できる。

図1 研究に利用されるヒト由来の試料・情報の入手先



出所：医薬産業政策研究所にて作成

各情報源の枠の右には、各情報源で想定される情報、情報源、利用方法などの一例を示す。

今回の調査対象の論文で利用された試料・情報に基づき作成した分類であり、すべての研究を網羅するものではない。

2) National Institutes of Health, Cancer Classification, <https://training.seer.cancer.gov/disease/categories/classification.html>

オンデマンドで前向きに収集した試料・情報を利用する研究は、研究の目的に応じて研究の実施計画を作成し、必要な試料・情報を、必要な量だけ取得できることが利点であり、企業が主導する新薬の臨床試験や患者へのアンケート調査、オンデマンド型バイオバンクへの試料提供依頼等が該当する。

既に収集されている試料・情報を利用する研究は、研究を目的とした収集か否かは問わず、研究立案時点で既に利用可能な試料・情報を用いることで、試料・情報取得の時間や労力を削減できることが利点であり、サプライヤーから購入した細胞や検体を利用して行う研究や、医療機関の電子カルテの情報を利用する研究等が該当する。

今回の調査対象となっている論文が利用した試料・情報の入手経路の分布を表1に示す。複数の分類の試料・情報を利用して行われた研究は、利用された全ての分類でカウントした。医薬品の臨床試験では、有効性評価や有害事象の記録等の医療情報と、血液等の生体試料を同一の試験内で取得する場合が多く、また、生体試料を利用した研

究では、論文の記載から、試料取得のための前向きな臨床研究と残余試料を利用した研究の判別が不可能な論文が多数存在したため、表1では、図1に示した分類を一部変更している。(オンデマンドで取得された試料・情報(試料の取得のみを目的とした研究を除く)を前向きに実施された研究としてまとめ、医療機関で取得された試料(前向き・後ろ向きを問わず)の利用が主目的である研究を医療機関における生体試料の取得としてまとめた。)

悪性腫瘍の領域で論文化された、製薬企業が関与するヒト由来の試料・情報を利用した研究において、最も多く利用されていた入手経路は、前向きの臨床試験やコホート研究であり、研究全体の約37%を占めていた。研究目的に沿って入手された試料・情報から得られた研究結果の質の高さと、臨床試験の透明性を高めるための活動として、研究結果の学術誌への投稿が推奨されていることがこの結果に関連していると考えられる。

続いて、生体試料を利用した研究では、生体試料の分譲を行うサプライヤーからの試料の入手が

表1 研究に利用された試料・情報の入手先の分類

情報の種類	論文数 (%) (N = 1,344)
前向き臨床試験・コホート研究・横断研究	499 (37.1%)
生体試料	
サプライヤーの利用 (細胞のみ)	179 (13.3%)
サプライヤーの利用 (その他試料)	27 (2.0%)
医療機関における研究用生体試料の取得 (前向き・後ろ向き)	96 (7.1%)
臨床試験時取得試料の二次利用	30 (2.2%)
医療・生体情報	
データベースプロバイダの利用	146 (10.9%)
医療機関において保管されている情報の利用	61 (4.5%)
臨床試験時取得情報の二次利用	97 (7.2%)
データポータル・データプラットフォームの利用	80 (6.0%)
その他学会主導のレジストリ等の利用	9 (0.7%)
生体試料・情報を利用しない研究	246 (18.3%)

出所：悪性腫瘍領域の研究に注力している製薬企業5社の原著論文をもとに作成
複数の情報源に由来する試料・情報を利用して行われた研究は、含まれるすべての分類で1カウントとして集計した。
生体試料のサプライヤー：健常ドナーや患者由来の各種生体試料を研究利用のために集約、提供を行う組織
データベースプロバイダ：医療機関、保険請求、公的調査等の情報を研究利用のために集約、提供を行う組織
データポータル・データプラットフォーム：広く研究に利用するために、ウェブ等で情報を公開するための環境

多かったが、容易に入手可能な株化細胞の利用が大半であり、細胞を除く試料に限定すると、医療機関で採取された試料を直接利用した研究がより多く確認された。医療情報を利用した研究では、医療情報を管理するプロバイダから情報を入手して実施された研究が最も多いという結果であった。

利用用途を概観するために、試料・情報の入手元の分類別に、Web of Science®において学術雑誌に対して割り当てられているカテゴリを集計した。カテゴリは各雑誌に一つ以上割り当てられており、複数の割り当てがある雑誌も存在する³⁾。表1の分類を基に、特徴的な傾向を示す試料・情報の入手経路のカテゴリを表2に示す。前向き
臨床試験・コホート研究を含む分類や、データベースプロバイダから入手された情報を利用した研究は、相対的に臨床研究関連の雑誌（*Journal of Clinical Oncology* や *Future Oncology* 等）に掲載されることが多く、医療機関で取得された試料やデータプラットフォームから入手した情報を利用

した研究は、相対的に基礎研究関連の雑誌（*Cancer Cell* や *Cancer Discovery* 等）に多く掲載されていることが確認できる。これらの特徴も踏まえて、以降の項でそれぞれの試料・情報に関して特徴を示す。

3-2. 各入手経路の特徴

試料・情報の入手経路の各分類の中で、今回の調査対象の研究において、高頻度で利用されていた試料・情報の内容と特徴を示す。

前向き臨床試験・コホート研究・横断研究

医薬品の介入を伴う臨床試験の結果を報告する論文が大半であった。その他には、医薬品の製造販売後の調査結果の報告や、安全性監視を目的としたコホート研究、治療の選好性等のアンケートを利用した研究などが存在した。

製薬企業が主導する臨床試験やコホート研究は、研究に参加する全ての被験者から、取得した情報の利用に関する同意を取得するため、情報のアクセス性や研究で必要となる情報の充足度は高

表2 各試料・情報を利用した研究結果の投稿分野

前向き臨床試験	割合 (N=499)	生体試料：医療機関	割合 (N=96)
Oncology	57.7%	Oncology	37.5%
Hematology	9.4%	Cell Biology	18.8%
Pharmacology & Pharmacy	8.6%	Multidisciplinary Sciences	13.5%
Medicine, General & Internal	7.0%	Biochemistry & Molecular Biology	8.3%
Medicine, Research & Experimental	5.6%	Immunology	8.3%
医療情報：データベースプロバイダ	割合 (N=146)	医療情報：データプラットフォーム	割合 (N=80)
Oncology	56.8%	Oncology	30.0%
Hematology	11.6%	Multidisciplinary Sciences	22.5%
Pharmacology & Pharmacy	8.2%	Cell Biology	10.0%
Urology & Nephrology	8.2%	Genetics & Heredity	10.0%
Medicine, Research & Experimental	6.8%	Medicine, Research & Experimental	8.8%

出所：Web of Science®クレンジングツールを用いて作成
それぞれの分類で頻度上位5カテゴリを示した。複数のカテゴリが割り当てられた雑誌は、含まれるすべてのカテゴリで1カウントとして集計した。

3) Clarivate, Web of Science Core Collection Overview, <https://webofscience.help.clarivate.com/en-us/Content/wos-core-collection/wos-core-collection.htm?Highlight=category>

い。一方で、情報の取得には、人的リソースや時間を要することが多く、長期の追跡や大量の患者情報を収集する必要がある場合には、相応の負担が必要となる。

生体試料のサプライヤー経由の入手

生体試料の中でも細胞とその他の組織では研究倫理の観点で入手難易度が大きく異なるため、それぞれ分けて整理を行う。細胞を利用した研究では、分譲された株化細胞を利用した研究が大半であった。中でも、米国の非営利団体である ATCC (American Type Culture Collection) が試料の提供元となっている研究が大部分を占める。その他にも日本の JCRB 細胞バンクや米国の民間のサプライヤーから入手した研究も存在した。

細胞以外の試料を利用した研究では、組織切片スライドを利用した研究が多く、米国の民間のサプライヤー (Avaden Biosciences, Inc. や ProteoGenex, Inc.等) から入手した研究が大半を占めた。

細胞の入手はサプライヤーから購入することで利用可能であり、試料へのアクセス性は高く、入手時の障害は少ない。本邦における、人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針においても、「既に学術的な価値が定まり、研究用として広く利用され、かつ、一般に入手可能な試料・情報」は指針の対象外とされており、倫理的な観点でも利用への障害は少ない。

その他の生体試料では、試料の取得時に全ての患者から、取得した試料を研究に利用することに関する同意が取得されることが一般的であり、倫理審査で承認を得ることができれば、試料へのアクセス性は比較的高い。

医療機関における研究用生体試料の取得

医療機関における治療期間に採取された腫瘍の生検や血液を利用する研究が多く、医療機関との共同研究や医療機関に併設されるクリニカルバイオバンクやバイオリポジトリ等からの試料の入手が大部分を占める。医療機関に保管された手術や検査時の残余試料を利用した研究と、研究の目的に応じて前向きに採取を行った研究の双方が存在した。

これらの生体試料も、試料の取得時に全ての患

者から、取得した試料を研究に利用することに関する同意が取得されることが一般的であるが、営利組織である製薬企業での利用が不可能な場合が存在する。前向きに採取を行う場合は、試料採取を目的とした臨床研究となるため、介入を伴う臨床試験と同様に、試料の取得にかかる人的リソースや金銭的な負担が大きくなり、全ての試料を入手するまでに時間を要する場合がある。

臨床試験時取得試料の二次利用

臨床試験実施時に採取された残余試料から DNA や RNA を採取し、臨床試験で取得された患者の情報と、配列情報や遺伝子発現との関連性を探索する研究が大半であった。

これらの生体試料も、試料の取得時に全ての被験者から、取得した試料を研究に利用することに関する同意が取得されることが一般的であるが、二次利用を行う同意を取得しているか否かが試料へのアクセス性に影響する。

データベースプロバイダ経由の入手

民間企業が提供するレセプトや電子カルテに由来するデータベースを利用した研究と、公的機関が提供するがん登録を利用した研究が大半であった。民間企業が提供する医療情報の利用では、悪性腫瘍の領域に限定した疾患特異的な情報源 (Flatiron, US Oncology Network) だけでなく、疾患横断的な情報源 (Optum, Medical Data Vision) から抽出された情報の利用も多く確認された。公的な患者登録の情報では、米国のがん統計を提供する SEER (The Surveillance, Epidemiology, and End Results) が最も多く利用されており、米国、英国、スウェーデン、デンマークのがん登録も一部の研究で利用されていた。

これらの情報は、プロバイダへの利用料の支払いやアクセスを申請することで利用可能であり、利用要件を満たせば情報へのアクセス性は高い。これらの情報は、各国の規制に基づき個人を特定可能な情報を削除することにより、個人情報保護されているものが多く、大量の患者の情報を研究に利用することが容易となることが利点である。一方、個人情報を保護する過程で、日付情報や遺伝情報等の研究に必要な情報も削除され情報

の充足度が低下する場合がある。

医療機関において保管されている情報の利用

治療期間に取得された、医療機関において保管されている電子カルテの情報を利用した研究が大半であった。製薬企業の助成により実施された共同研究と、医療機関の著者が筆頭著者になり製薬企業からの著者が共著者として参加している研究が多く存在した。病理検査の結果やMRI等の画像情報を利用した研究も一部存在した。

医療機関では、入院や通院期間に医療機関において行われた処置や医学的所見を網羅的に記録しており、研究で必要となる情報の大部分の項目を入手できる可能性が高い。一方で、これらの個人情報を利用するためには、相応の倫理審査や研究体制を含めた情報管理に関する検討が必要となり、情報の取得にかかる負担は大きい。

臨床試験時取得情報の二次利用

有効性や安全性の評価や、母集団薬物動態解析のために複数の臨床試験の結果を統合して解析した研究が多く存在した。その他にも、費用対効果評価におけるシミュレーションのパラメータ推定での利用や、外部対照群との有効性の比較のために利用した研究も存在した。

臨床試験時取得試料の二次利用と同様に、情報の取得時に全ての被験者から、取得した情報を研究に利用することに関する同意が取得されることが一般的であるが、本来の臨床試験の目的以外の二次利用も可能となる同意を取得しているか否かが情報へのアクセス性に影響する。

データポータル・プラットフォームの利用

トランスクリプトームの発現量や配列情報を利用した研究が大部分を占め、TCGA (The Cancer Genome Atlas Program) や GEO (Gene Expression Omnibus) を利用して情報を入手した研究が大半であった。TCGA では DNA の配列や病理標本の画像情報も提供されており、研究数は多くな

いものの、それらの情報を利用した研究も一部存在した。

これらのポータルで提供される情報も、情報の取得時に全ての被験者から、取得した情報を研究に利用することに関する同意が取得されることが一般的である。ポータルやプラットフォームを構築し、研究者への情報提供を積極的に行っており、情報へのアクセス性は高く、直ぐにダウンロードが可能な情報も存在する。TCGA では即時利用可能な情報と、利用の承認が必要な情報が研究倫理の観点で分けられており、配列情報を利用する際には一定の利用審査が求められる。

3-3. 医療・生体情報の共有基盤

医薬産業政策研究所では、医療・生体情報の利用促進に向けた調査を継続的に行っている。今回は、ヒト由来の情報の入手先の中でも、製薬企業からの利用頻度が高く、情報入手の可否が製薬企業外部からの医療情報提供環境の整備状況に大きく依存する「データベースプロバイダ経由の入手」と「データポータル・プラットフォームの利用」に焦点を当て、日本における整備の状況を深掘りした。今回の調査においては、データベースプロバイダは、利用者の申請と契約に基づきデータの管理・提供を行う組織、データポータル・プラットフォームは、大半の情報がウェブ経由で広くアクセス可能となるように整備された環境と定義した^{4)、5)、6)}。

3-3-1. データベースプロバイダ経由の入手

今回の調査において、データベースプロバイダ経由の入手の分類で利用頻度の高かった情報を表3に示す。利用頻度の上位3つの情報の特徴について触れる。まず、上位の Flatiron Health、SEER の情報は共に米国の悪性腫瘍の領域に特化した情報となっている。前者は、疾患特異的な

4) National Cancer Institute, The Cancer Genome Atlas Program (TCGA), <https://www.cancer.gov/ccg/research/genome-sequencing/tcga>

5) Gene Expression Omnibus, GEO Overview, <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/geo/info/overview.html>

6) Sudlow, Cathie, et al. UK biobank: an open access resource for identifying the causes of a wide range of complex diseases of middle and old age. *PLoS medicine*, 2015, 12.3: e1001779.

表3 データベースプロバイダの内訳

情報の入手先	論文数 (%) (N=146)	地域	主体	対象疾患	主な情報源
Flatiron Health	28 (19.2%)	米国	民間	疾患特異	EMR
SEER: Surveillance Epidemiology and End Results	11 (7.5%)	米国	国立	疾患特異	がん登録
Optum	10 (6.8%)	米国	民間	全疾患	請求データ
IQVIA PharMetrics Plus	7 (4.8%)	米国	民間	全疾患	請求データ
Medical Data Vision	7 (4.8%)	日本	民間	全疾患	請求データ
US Oncology Network iKnowMed EHR	7 (4.8%)	米国	民間	疾患特異	EMR
ConcertAI	5 (3.4%)	米国	民間	疾患特異	EMR

出所：医薬産業政策研究所にて作成

利用頻度が5論文以上あった情報の入手先を示した。

EMRに由来する情報であり、民間企業から提供がなされている。後者は、国立のがん研究所が管理しているがん登録の情報となっている。Optumは、保険請求の情報とEMR等に由来する情報が民間企業から提供されており、全領域の情報から悪性腫瘍の領域の情報が抽出して利用されている。悪性腫瘍の領域では、前号のニュース No.71で触れたように、多様な疾患や用途で利用できる汎用的な情報と構造化が容易でない疾患特異的な情報の二つが同程度利用されている状況であり⁷⁾、EMRの研究利用も既に実現され始めていることが分かる。

本邦においても、悪性腫瘍における疾患特異的な情報の二次利用に向けた動きは始まっており、前述した米国のFlatironも日本に子会社を設立し、国立がん研究センターのSCRUM-Japanプロジェクトと連携を行い本邦におけるデータベースの構築を目指すことが2022年に公表されている⁸⁾。その他にも、AMEDの事業の成果を基に電子カルテ入力支援システムを開発した新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社は、内閣府の戦略的イノベーション創造プログラムにも採択さ

れており、医療情報の構造化の研究には公的な支援も行われている^{9)、10)}。公的ながん登録情報の民間事業者からの利用可否についても厚生労働省の厚生科学審議会において議論が進められている状況であり¹¹⁾、全国医療情報プラットフォームの二次利用基盤においても利用可能となる構想が公表されている¹²⁾。

3-3-2. データポータル・プラットフォームの利用

今回の調査において、データポータル・プラットフォーム経由で入手した研究の分類で利用頻度の高かった情報は、TCGAを利用した研究が56% (80報中45報)、GEOに登録された情報を利用した研究が26% (80報中21報)と大半を占め、続いてTARGET (Therapeutically Applicable Research to Generate Effective Treatments)とUK Biobankがそれぞれ5報で続いた。これらは、いずれも米国または英国の機関に管理されている情報源であるが、世界中からの利用が可能となっており、特にTCGAの情報は米国以外の多くの国からも利用がなされている。TCGAに関する記載がある原著論文を、Web of Science®クラリベイトで、製薬会

7) 医薬産業政策研究所、製薬企業における医療情報の二次利用の現状、政策研ニュース No.71 (2024年3月)

8) Flatiron Health Japan, Press Release, <https://flatiron.co.jp/#news>

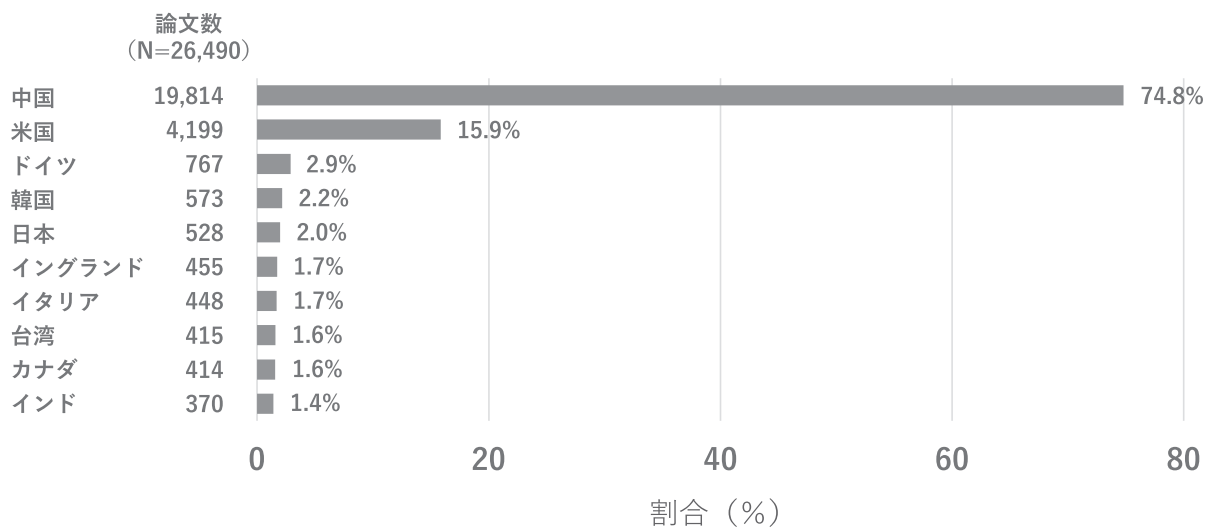
9) 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業、<https://www.amed.go.jp/program/list/14/05/006.html>

10) 内閣府、統合型ヘルスケアシステムの構築推進委員会 (第2回) 資料2、https://www8.cao.go.jp/cstp/gaiyo/sip/iinkai3/healthcare_2/healthcare_2.html

11) 厚生労働省、厚生科学審議会 (がん登録部会) 全国がん登録及び院内がん登録に係る課題と対応方針 中間とりまとめ、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_35523.html

12) 健康・医療戦略推進本部、第11回 健康・医療データ利活用基盤協議会 資料2、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/dai11/gijisidai.html

図2 TCGAに関連する記載がある論文の著者国



出所：Web of Science® クラリベイトをもとに作成

頻度上位10か国を示した。複数国の情報を利用して実施された研究は、含まれるすべての国で1カウントとして集計した。

社の関与に限らず全論文で確認をすると、中国の著者が関与する割合が米国を上回っており、韓国、日本、台湾等の東アジアの国からの利用も多く見られることが分かる（図2）。このような情報のオープンアクセスが進むことは、健康分野における研究の発展の観点では、望ましい動きである一方で、遺伝子の変異情報等は人種によって異なることも報告されており、海外の大規模な情報源のみに依存することへのリスクも厚生労働省の部会で示されている¹³⁾。

本邦においても、遺伝子パネル検査から得られたゲノム情報および診療情報は国立がん研究センターのがんゲノム情報管理センター（C-CAT）が管理しており、ポータルを経由した利活用が始まっている¹⁴⁾。その他にも、厚生労働省の下で全ゲノム解析等実行計画が進められている。がんと難病を対象に、マルチ・オミックスの情報と共に遺伝情報のデータを搭載した情報基盤の構築が行われており、悪性腫瘍の領域で先行して、研究開発

に利用できる遺伝情報の情報基盤構築が進んでいる状況である¹⁵⁾。

4. まとめ

本稿では、製薬企業が関与するがん研究の試料・情報の供給源の利用頻度の分布を確認し、特に研究への利用の可否が、企業外部の提供体制の整備状況に大きく依存する医療情報と遺伝情報の現状に関してまとめた。

製薬企業において、研究の目的に沿った試料・情報の取得方法を検討する際に、最も研究目的に合致した試料・情報を入手するためには、全ての研究で試料・情報の取得を含めた研究計画を立案し、前向きに取得することが理想である。しかしながら、全ての研究で前向きに情報を入手することは、取得にかかる膨大な費用や時間、大量の試料・情報や希少疾患に関する試料・情報が必要な場合の実施可能性などの様々な観点において困難な場合が多い。このような状況を解決するために

13) 厚生労働省、第1回がんに関する全ゲノム解析等の推進に関する部会 資料2-1、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_07324.html

14) 厚生労働省、第4回 がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議 資料1、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_17151.html

15) 厚生労働省、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（第20回）資料1-1、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_38751.html

も、研究に必要な試料・情報が利用可能となるような環境の構築は、非競争な領域として複数の利用者が協力していくことがイノベーションの促進に繋がると考える。

特に、後半で取り上げた、データベースプロバイダにおける情報の整備や情報量・種類の拡大、データポータル・プラットフォーム等による情報提供環境の整備は、製薬企業の研究活動に大きく関わっており、提供者と利用者が協力し、方向性の検討や情報の整備を行っていくことが望まれ

る。これらの基盤で取り扱われる医療・生体情報は、国民の健康維持や日本人に向けた医薬品の開発、評価を進めるために非常に重要な役割を果たすため、国が主導する医療 DX 推進等の施策の中においても、研究に利用するための情報整備を促進していく必要があると考える。現在、厚生労働省や AMED の事業等において、特に悪性腫瘍の領域でこれらの整備が進められている。このような動きが他の疾患領域にも波及していくように、迅速に環境整備の検討や利用に向けた制度設計を進めていくことが求められる。

製薬企業が医療情報の利活用時に求める要素

医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子
医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田 法大

要約

- 医療情報の利活用は現代医療の基盤であり、製薬企業でも研究開発から市販後の評価まで広く利用され、医療情報の品質が情報構築の段階から保証されていることが重要である。
- 製薬企業が医療情報を利活用する際に求める要素を、医療情報の形成過程に沿って整理し、考慮すべき要素として、患者情報の追跡性、多様な情報の連結、対象患者の代表性、情報の標準化、個人情報の保護、情報へのアクセス性向上の6つを挙げた。
- 日本の主要な医療情報データベースはそれぞれに強みを持ちながらも、考慮すべき6つの要素全てを満たす統一的なデータベースは存在せず、情報の連結による補完が求められる。医療情報の価値を最大化するためには、多様なステークホルダーが協力し、情報構築の段階からデータベース連結を意識した法制度や情報連携基盤の整備に向けた議論を推進することが重要である。

1. はじめに

医療情報¹⁾の利活用は現代医療の基盤を成す重要なテーマであり、患者の医療サービス向上に不可欠である。製薬企業においては、医薬品の研究開発やマーケティング、市販後の有効性・安全性評価等、全てのバリューチェーンを通して様々な

場面で医療情報が利活用されるが、必要とされる情報の種類や形式は目的に応じてそれぞれ異なる。特に、効果的な医薬品開発や革新的な医薬品創出のために、医療情報の品質が情報構築の段階から保証されていることが重要であり、包括的な医療情報の利活用基盤整備が求められる。

昨今の医療情報利活用へ向けた取り組みに目を向けると、「健康・医療・介護情報利活用検討会」の下で2023年11月から開催されている「医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ」²⁾では、医療等情報の二次利用をさらに促進するための法制度や情報連携基盤の整備が主な議題となっている。また、連携の整備方法など技術的な問題を取り扱う医療等情報の二次利用に関する技術作業班もワーキンググループの下で2024年2月から開催されるなど、まさに今、医療情報の利活用とその基盤を構築するための重要な時期である。しかしながら、当該ワーキンググループの構成員には製薬企業関係者が含まれておらず、医療情報基盤の整備へ向けた製薬企業の要望や課題が見落とされる可能性が懸念される。

本稿では、製薬企業が医療情報を利活用する際に求める要素を、医療情報の形成過程に沿って整理し、それが日本の主要な医療情報データベースではどの程度充足されているかを確認する。この要素の整理を通じて、医療情報に関する環境整備が急がれる現在において、製薬企業の視点から見

1) 本稿で言う医療情報は、全国医療情報プラットフォームに示されている情報は勿論、今後、患者の医療サービス向上に寄与すると考えられる情報も含む幅広い情報を意味している。

2) 厚生労働省、「医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ」、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_36181.html

た医療情報利活用の理想と現実のギャップを明らかにし、多様なステークホルダー間での共通理解を深めることを目的とする。

2. 製薬企業が医療情報の利活用時に求める要素

製薬企業が医療情報を利活用する際に当該情報が持つべき特性は、規制当局のガイドラインや論文発表において、これまでに種々言及されている。FDA がガイダンス³⁾で参照したIMDRF の文書⁴⁾では『網羅性、完全性、正確性、整合性、信頼性』、EMA のフレームワーク⁵⁾では『信頼性、広範性、整合性、適時性、該当性』、直近では「JMIR Medical Informatics」に2024年に公開された学術論文⁶⁾に、『完全性、一貫性、正確性、適時性、安定性、文脈化、代表性、信頼性、一意性』といった項目名称により表現されている。

このように、多岐にわたる特性が提示されている中で、これらをどのようにして有機的に結びつけ、医療情報の価値を高める要素として整理するかが課題となるが、今回は、医療情報が形成されていく過程に沿って、上記に挙げた数ある特性を

下記のイメージ図（図1）に照らし、相互に親和性や類似性を持つ者同士でグルーピングすることで、6つの考慮すべき要素に大別した（図1・表1）。

以下では、このグルーピングした6つの考慮すべき要素について説明する。

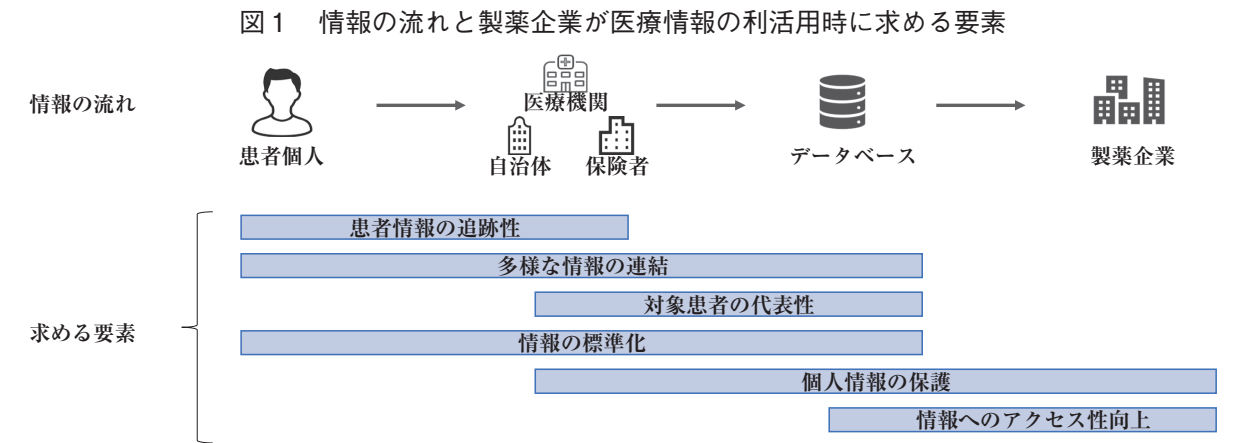
① 「患者情報の追跡性」

特定の患者の医療情報を時間軸に沿って継続的に収集、更新し、一貫性をもって管理すること。この要素は、患者の治療経過や健康状態の変化を正確に追うことを可能にする。しかし、特定の医療機関等の一つの組織において、個人の健康状態

表1 製薬企業が医療情報の利活用時に求める要素

求める要素	関連する情報が持つ特性の一例
患者情報の追跡性	追跡性、継続性、一貫性
多様な情報の連結	充足性、広範性、完全性
対象患者の代表性	網羅性、悉皆性、一般化可能性
情報の標準化	正確性、信頼性、整合性
個人情報の保護	匿名性、透明性、機密性
情報へのアクセス性向上	適時性、即時性、利用可能性

出所：医薬産業政策研究所にて作成



出所：医薬産業政策研究所にて作成

3) FDA, 「Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices」, <https://www.fda.gov/media/99447/download>
4) IMDRF Registry Essential Principles, 「Proposed Document International Medical Device Regulators Forum」, <https://www.imdrf.org/sites/default/files/2021-09/imdrf-cons-essential-principles-151124.pdf>
5) EMA-HMA, 「Data Quality Framework for EU medicines regulation」, https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/data-quality-framework-eu-medicines-regulation_en.pdf
6) Jens Declerck, MSc; Dipak Kalra, Prof Dr; Robert Vander Stichele, Prof Dr; Pascal Coorevits, Prof Dr, 「Frameworks, Dimensions, Definitions of Aspects, and Assessment Methods for the Appraisal of Quality of Health Data for Secondary Use: Comprehensive Overview of Reviews」, <https://medinform.jmir.org/2024/1/e51560/PDF>

を追跡し続けることは困難であり、追跡し続ける仕組みを作ることはコストが必要である。また、情報の入手には患者や医療機関の協力が不可欠であり、情報の生成から収集までの段階に多くの課題が存在する。

② 「多様な情報の連結」

患者一個人の治療経過や健康状態をより詳細に把握し分析できるよう、異なる種類の医療情報を統合すること。個人の健康状態に関連する情報は、患者の診療記録や検査結果、処方履歴、検診情報、予防接種情報や死亡情報等、多岐にわたり、これらの情報を連結することで網羅的かつ充実した患者一人ひとりの情報の全体像を形成することができる。しかし、情報の管理者が散在していることや連結のための識別子が無いことなどが問題とされており、患者自身が保有する情報と医療機関が保有する情報をデータベース管理者が効率的に連結する仕組みを作ることが求められる。

③ 「対象患者の代表性」

収集された医療情報が、特定の疾患や治療に対する患者集団の代表性を保つこと。この要素により、得られた情報の外部妥当性が高まり、バイアスが最小化され、一般化可能な結論を導くことが可能になる。収集された医療情報が様々な場面で利用可能となるためには、多様性を持つ患者集団からの情報を入手することが望ましい。しかし、追跡性と同様に仕組みを作るためのコストが莫大となることや、患者や医療機関の賛同を得る必要があることなどが問題で、医療機関とデータベース管理者のフローが円滑に行われるような仕組み作りが求められる。

④ 「情報の標準化」

異なるデータソースから収集される医療情報を一貫した形式に整理し、情報の統一性を高めること。この要素は、先に述べた医療情報の追跡性や多様性、母集団としての充実性を高め、情報の正確性、信頼性、および妥当性を確保し、様々な医療環境や研究での情報の比較と分析を可能にする。

る。しかし、各データソースが異なる形式やコード体系を使用している場合、標準化プロセスは複雑で、統一するためには多くの調整とコストが必要となるため、情報の生成段階からデータベース化の段階に至るまで、関連するステークホルダー間での協力と合意が必要である。

⑤ 「個人情報の保護」

医療情報の利活用において、患者のプライバシーが保護されていること。この要素により、患者の個人情報が匿名化または仮名化され、個人を特定できないように加工された情報を利活用することで、製薬企業の活動の信頼性と社会的信用を高める。匿名加工処理により日付の変更や年齢の丸めなどが実施され、また、ゲノムデータや一部の画像データのように個人識別符号であるため匿名加工の過程で削除されるものも存在する。これらの処理は、データの解析精度に影響を与える可能性があるため、精度を維持し医療情報の価値を下げずに、個人識別が不可能な状態を維持する工夫が必要である。

⑥ 「情報へのアクセス性向上」

医療情報を必要とする利活用者に対して、迅速かつ容易にアクセス可能である状態を保つこと。この要素により、情報がリアルタイムで提供され、利用者は最新のデータに基づいた意思決定が可能となる。しかし、情報の即時性や適時性を確保するためには、技術的なインフラの整備や更新頻度を高めるためのコストが必要となる。また、情報へのアクセス方法や申請手続き、アクセス環境、利用料金などの観点も考慮し、利用者が容易に情報を利用できるような仕組みを構築することが求められる。

3. 考慮すべき要素と製薬企業での重要性

製薬企業のバリューチェーンは一般的に、創薬研究、臨床開発から、マーケティング・販売、市販後調査（PMS）、再審査・再評価等の流れで概ね表現され、バリューチェーン全体にわたり医療情報は大いに活用される。では、上記で述べた6

つの考慮すべき要素は、製薬企業のバリューチェーンのどのような局面において必要とされるのか。それを裏付ける具体的な活用場面に触れていきながら、その重要性を再確認したい。

① 「患者情報の追跡性」

医薬品の研究開発や、安全性監視（ファーマコビジランス）では、医薬品が投与された患者の有効性や安全性の追跡が求められる。これらの調査では必然的に、投与前の患者の既往歴、投与日、投与後のエンドポイントの捕捉と、時間の流れに伴った情報が必要となる。これらの患者の経時的なプロセスは Patient Journey と呼ばれ、アンメットメディカルニーズの把握や、自然治療の予後の推定などへの期待も高まっており、製薬企業の全てのバリューチェーンで重要な要素となる。

② 「多様な情報の連結」

本邦における個人の医療情報は集約が進んでおらず、現在利用可能となっている情報は患者個人を表現する情報としては断片的な情報となっている。例えば、死亡情報を管理する自治体の情報は、医療機関が管理する既往歴や治療内容の情報を有しておらず、死亡に与える影響を評価するモデルを構築するためのパラメータが不足する。この事例のように、創薬研究における医用画像の AI 開発や、マーケティングにおける市場予測など、製薬企業では機械学習のモデルがほぼ全てのバリューチェーンで利用されており、パラメータの種類の充実はこれらの予測精度の向上や交絡因子の調整等で重要な要素となる。

③ 「対象患者の代表性」

医療情報を用いて意思決定を行うためには、利用した医療情報に含まれる患者集団から得られた結果が、研究において想定する患者集団に外挿できるかが重要となる。製薬企業が利用できるように医療情報を整備している医療機関は、現時点では大規模な医療機関が多く、病態も重篤な患者の割合が多くなる傾向にある。そのような情報を用いて医薬品の治療実態の調査を行うと、全体の使

用傾向を正しく推定できない可能性がある。悉皆性が高い情報が利用可能となることにより、多様な条件で精密なセグメンテーションを行った際にも十分な患者数を確保することが可能となる。

④ 「情報の標準化」

医療情報を用いて意思決定を行うためには、医療情報から推定される結果の精度の高さが必要となる。対象患者の代表性を高めるためには、複数の医療機関の情報を合わせた解析が必要となるが、その際に異なる条件で情報が取得されることや、使用されている医療用語の定義が異なることにより、正しい推定結果を得ることが困難となる場合がある。特に、薬事に関する意思決定は患者の医薬品へのアクセスや安全対策に関わるため、質の高い情報を用いて意思決定を行うことが重要となる。

⑤ 「個人情報の保護」

患者の個人情報保護のために行われる匿名加工の処理は、特定の個人を識別することができないように情報の加工が行われる。匿名加工で用いられる日付情報の加工、年齢や臨床検査の結果の数値の丸めは、推定される結果の精度の低下に繋がる。情報の標準化と同様に、推定精度の低下は患者の医薬品へのアクセスや安全対策に関わるため、特定の個人を識別する情報を除く実データに加工を加えない仮名加工情報の利用は解析結果の精度向上に寄与する。

⑥ 「情報へのアクセス性向上」

前述した情報の連結や対象患者の代表性の向上を行い、情報の量を確保するためには、製薬企業がデータを管理する複数の組織と連携を進めていく必要が生じるが、製薬企業の単体のプロジェクトでは時間や費用の制約があり、情報連携のハブとなることは難しい。情報が必要となった際に、迅速にアクセスできる環境が構築されると、早期の意思決定、患者への情報提供に繋がる。製薬企業から医療情報へのアクセス性が全体的に向上することにより、単体のプロジェクトでは経済合理

性がなく、利用が出来なかったバリューチェーン全体での利用が可能となることが期待される。

4. 主要な医療情報データベースの現状

それでは、日本の主要な医療情報データベースでの整備状況はどうか。ここでは、NDB（レセプト情報・特定健診等情報データベース）、MID-

NET、次世代医療基盤法の認定事業者から提供されるデータベース、民間事業者のデータベースの、4つのデータベースを取り上げる。以下のマトリクス（表2）はデータベースごとに、先に述べた考慮すべき6つの要素をどの程度充足しているかという観点から整理したものである。

表2 日本の主要な医療情報データベースと考慮すべき要素

考慮すべき要素	日本の主要な医療情報データベース				
	NDB (レセプト情報・特定健診等情報データベース)	MID-NET	次世代医療基盤法の認定事業者から提供されるデータベース	民間のデータベース事業者	
				保険者由来	医療機関由来
患者情報の追跡性	保険組合の種類を超え患者個人を追跡できる	協力医療機関内に留まる	協力医療機関内に留まる	同一保険組合内に留まる	契約医療機関内に留まる
多様な情報の連結	種類：レセプト／特定健診等情報 公的 DB、次世代 DB との連結へ進んでいる 死亡情報の収載予定	種類：電子カルテ／レセプト／DPC データ NCDA と連携開始	種類：電子カルテ／レセプト／DPC データ 多様な情報を名寄せして連結可能	公的なデータベースとの連結は現状、具体的に検討されていない	
対象患者の代表性	総登録者数：約 1 億 2,000 万人 日本の総人口とほぼ同等	総登録者数：約 605 万人 急性期病院が中心	総登録者数：約 158 万人（千年カルテ） 急性期病院が中心	総登録者数：約 1,600 万人（JMDC 保険者データベース） 就労者と扶養家族からなる集団	総登録者数：約 4,425 万人（EBM Provider [®] ） 急性期病院が中心
情報の標準化	標準化処理済みデータベース	継続的な標準化作業を実施 協力医療機関拡大の為に電子カルテ情報の標準化が必要（医療 DX 推進で改善予定）	各認定事業者による標準化処理 協力医療機関拡大の為に電子カルテ情報の標準化が必要（医療 DX 推進で改善予定）	標準化処理済みデータベース	
個人情報の保護	匿名化 個人の特定できない形で収集	一定の匿名化 直ちに個人を識別できない一定の処理を行っている	匿名加工／仮名加工 & 本人に通知	匿名加工 個人情報保護法に従い、利用	
情報のアクセシビリティ向上	提供体制の見直しを検討されている	提供体制の見直しを検討されている	仮名加工医療情報の利用時には国からの認定が必要	情報は定期的に更新され即時性が高い Web 分析ツールの提供や事業者への解析依頼ができる	

注：総登録者数は、日本薬剤疫学会、「日本における薬剤疫学に应用可能なデータベース調査」⁷⁾より引用
出所：各種 WEB サイトを基に医薬産業政策研究所にて作成

7) 日本薬剤疫学会、「日本における薬剤疫学に应用可能なデータベース調査」、https://www.jspe.jp/wp-content/uploads/2024/04/JSPE_DB_TF_J.pdf.

① NDB（レセプト情報・特定健診等情報データベース）

NDBの最大の強みは、対象患者の悉皆性である。日本の国民皆保険制度の下、保険種別（被用者健康保険、国民健康保険、後期高齢者医療制度）を超えて、全数に近い割合で情報が収集されている。また、情報が標準化されているため、異なる地域や医療機関からの情報を統合して利用する際にも一貫性が保たれている。2022年度からは一意に個人を追跡可能なID5と呼ばれる識別子の付与が開始され、長期的な患者情報の追跡も可能である⁸⁾。また、「多様な情報の連結」という観点では、現状はレセプトと特定健診等情報に限られるが、介護DBやDPCDB等、公的データベースとの連結や次世代医療基盤法との連結に向けた取り組みが進んでおり、死亡情報も2024年度に収載開始予定である⁹⁾。

一方で、製薬企業の情報へのアクセス性には課題がある。情報の取得や利用には厳格な規制や手続きが存在し、迅速に必要な情報にアクセスすることが難しく、また、情報の提供形式やアクセスの手続きが複雑であり、利用者にとってのハードルとなることがある。

NDB提供体制の見直しはすでに検討されており、例えば申請から提供までの処理期間を現状の平均390日から原則7日に短縮する審査方法の見直しや、医療・介護データ等解析基盤（HIC）を通じてリモートアクセスする仕組みを構築中であるが、NDBの迅速提供は情報量が限定されるなど条件付きである。また、他のデータベースとの連結を視野に入れると、データベース毎に申請や審査の方法が異なり、それぞれにおいて諸手続きを踏むと、利用開始までには時間がかかることが想定されるため、申請や審査の方法を統一化するこ

とが求められる。

② MID-NET

MID-NETの情報の種類は、電子カルテ、レセプト、DPCデータと多様で、特に臨床検査結果を利用できることが特徴であり、それぞれ連結利用できる。他の医療情報データベースとは、2023年10月より国立病院機構が運営するNCDAと連携が開始され、一部データが利用可能となった¹⁰⁾。また、MRDAという独自の仕組みを導入し、定期的な標準化が実施された信頼性の高い情報を提供している点も特徴の一つである。

一方で、いくつかの課題も存在する。まず、NDBとの連結に関しては、連結に必要なハッシュ生成情報がPMDA側のシステムで収集できる仕組みになっていないため、MID-NETの協力医療機関側のシステムの大規模な改修が必要である¹¹⁾。また、「対象患者の代表性」に関しては、現行の7大学病院及び3医療機関グループからなる協力医療機関10拠点に徳洲会グループ10病院が追加されるが、大学病院や急性期病院が中心となっているため慢性期の患者を対象とすることには限界があり、全国規模での一般化可能な結論を導き出すことが難しい。さらに、協力医療機関に限られるため、他の医療機関の追跡性（来院前や転院後等）にも課題がある。MID-NETは前述の通り、信頼性の高い情報を提供しているが、患者規模を拡大していくには更なるコストやリソースが必要となり、利用料増額などへ波及する可能性もある。情報のアクセス性についても、MID-NETの利活用者に対しては、利用目的や利用環境について事前に審査を受け、限られた場所でしか閲覧や解析を行うことができない。

このような課題を解決するためには、二次利用

8) 厚生労働省、「第9回NDBオープンデータの作成方針について」、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001175414.pdf>

9) 厚生労働省、「NDBデータの利活用の現状」、<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166477.pdf>

10) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、「MID-NET[®] シンポジウム 2024～新ステージへの幕開け～MID-NET[®]の利活用促進に向けた取り組み」、<https://www.pmda.go.jp/files/000267106.pdf>

11) 厚生労働省、「医療・介護データの連結等に関する今後のスケジュールについて」、<https://www.mhlw.go.jp/content/12301000/000670766.pdf>

を考慮した、情報の生成段階での標準化が求められる。医療 DX による電子カルテ情報の統一¹²⁾が一助となるだろう。また、MID-NET 改善策の3本柱のひとつには、利便性の向上が掲げられ、利活用に関するガイドラインの改定も検討されているが、今後も製薬企業等利活用者の声を反映した「情報へのアクセス性向上」が期待される。

③ 次世代医療基盤法の認定事業者から提供されるデータベース

次世代医療基盤法の認定事業者から提供されるデータベースは、多様な情報（カルテ情報・画像情報・健診情報等）を名寄せして連結可能であることが特徴である。また、NDBや介護DB、DPCDB等の公的データベースの連結解析も可能となった。さらに、仮名加工医療情報の作成・提供が可能である点が、他のデータベースにはない大きな特徴である。

しかし、いくつかの課題も存在する。まず、他のデータベースとの連結においては、他のデータベースでの個人情報保護の方法にも依存するため、NDB等と連結する場合は匿名加工医療情報に限られる¹³⁾。また、「対象患者の代表性」については、医療情報を提供する協力医療情報取扱事業者は、2024年4月時点では120件、35都道府県に分布しており¹⁴⁾ 急性期病院が中心のため、代表性が高いとは言えず、次世代医療基盤法に基づく取り組みへの参画が努力義務として課されている現状では、負担が想定される医療機関や自治体の数を飛躍的に増やしていくことは難しいのではないだろうか。MID-NET 同様、他の医療機関の追跡性にも課題があり、情報のアクセス性については、仮名加工医療情報の利用は、個人情報保護の観点により国による認定の取得が必要であり、認定基準の審査の下、安全管理措置義務等が課せられる。「個人情報の保護」では、医療機関等の医療情報取扱事業者が本人又はその遺族に対して、認定事業

者に医療情報を提供することを書面等で通知をし、本人が拒否しなければ医療情報を提供できるという、丁寧なオプトアウトと呼ばれる制度が採用されていることは他のデータベースと違う点である。この制度が情報提供者である国民の権利保護に繋がるかという観点では多様な意見がある。情報の提供を拒否するケースが増えると、サンプルサイズが減少したり、情報に偏りが生じたりと対象患者の代表性に影響を与える可能性があり、また、オプトアウトに対応することで医療機関や自治体の管理負荷にも繋がりがかねない。

改正次世代医療基盤法が施行されても依然として残る上記の課題に対しては、今後議論が深まり、新たな方策や制度の改善が進むことが期待される。特に、個人情報の保護と情報の有用性のバランスをとるための新しい技術や方法論の導入や、医療機関や自治体の参画を促進するための支援策やインセンティブの提供、医療 DX 推進による電子カルテ情報の標準化、仮名加工医療情報の利用に関する認定基準の見直しや運用の柔軟性の確保も重要であり、これらの取り組みを通じて、医療情報の利活用がより一層促進されることが求められる。

④ 民間のデータベース事業者

日本における民間のデータベース事業者には、株式会社 JMDC やメディカル・データ・ビジョン株式会社等が挙げられる。標準化処理され、情報の即時性が高く、Webツールが提供されたり事業者が解析を依頼できたりと利便性も高いことから、広く製薬企業に使われている。

一方で、保険者由来の場合は保険組合の転入前、転入後は追えず、医療機関由来の場合は当該医療機関の来院前や転院後を追えない。また、データベース事業者が契約している保険組合や医療機関に限定されるため「対象患者の代表性」には課題があり、「多様な情報の連結」という観点では、公

12) 厚生労働省、「医療 DX の推進に関する工程表〔全体像〕」、<https://www.mhlw.go.jp/content/12600000/001163650.pdf>

13) 内閣府、「改正次世代医療基盤法について」、<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166476.pdf>

14) 内閣府、「協力医療情報取扱事業者一覧」、<https://www8.cao.go.jp/iryou/kyouryoku/kyouryoku.html>

的なデータベースとの連結について議論にはあがっても、具体的な対応は検討されていない現状である。

現状の主要な医療情報データベースを見ると、どれも、長けている要素は多くある一方、考慮すべき要素を全て一貫して実現したデータ環境が存在するとは言いがたい状況である。全ての要素が満たされた統一的なデータベースを作ることが理想的ではあるが、現状簡単にはできないため、個々のデータベースが持つ強みを補完し合い連結することで、医療情報の価値を高めることが期待される。異なる種類の情報を統合することでより包括的で詳細な患者情報を得ることができ、例えば、レセプトやDPC データに含まれる過去の処方情報と、電子カルテ情報の退院後や転院後の長期的な臨床情報を連結することで、因果関係の解析が可能となる。実際に、電子カルテ、DPC データ、レセプトが治療実態把握及び病気の進展に関する因果探索に活用された事例¹⁵⁾もあり、今後の活用事例の拡がりに注視したい。レセプトはNDB という非常に悉皆性の高いデータベースが存在するが、電子カルテについては、MID-NET や次世代医療基盤法の認定事業者から提供されるデータベースは小規模なスケールから始め協力医療機関を募っている段階である。NDBと連結し差分を求めることで、不足している患者層を特定し、その患者層を補足できる医療機関を優先的に募ることも一手であり、また、今後新たな方策や制度の改善が進み、さらに全国展開し、代表性を高めてい

くことを期待したい。これまで述べてきた6つの考慮すべき要素を実現するためにも、医療情報の構築時の段階から、データベース連結を意識した法制度や情報連携基盤の整備を望む。

5. おわりに

本稿では、製薬企業が医療情報を利活用する際に求める要素を検討し、日本の主要な医療情報データベースの現状について整理した。医療情報は、製薬企業において創薬から市販後の安全性監視まで、バリューチェーン全体を通して重要な役割を果たしており、必要な要件が満たされない場合、情報の有用性や信頼性に関する問題が生じ、製薬企業の価値創出における大きなボトルネックとなる可能性がある。しかし、現在の医療情報データベースは散在しており、様々な要素において十分ではない状況が明らかになり、より一層の改善が必要と言える。

現在進行中の全国医療情報プラットフォームは、2024年度の診療報酬改定でも医療 DX の推進に関する評価が新設される¹⁵⁾ など、大きな期待が寄せられているが、製薬企業の視点を十分に発信し、そのニーズも満たすプラットフォームの構築が望まれる。医療情報の利活用をより一層促進するために、多様なステークホルダーが協力し合い議論を進めることで、製薬企業が医薬品開発や治療方法の改善に向けた有用な情報を迅速かつ正確に取得できる環境を構築し、患者の医療サービス向上と国民の健康増進に寄与することを期待したい。

15) 厚生労働省、令和6年度診療報酬改定の概要【医療DXの推進】、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001219984.pdf>

主な活動状況（2024年3月～2024年6月）

3月 1日 政策研ニュース No.71発行

5日 講演 「PPIの最新動向 ～PPIの更なる促進に向けて～」
医薬産業政策研究所 前・主任研究員 吉田晃子
(製薬協 第41回 患者団体セミナー)

29日 政策研リサーチペーパー・シリーズ No.82 発行 「医薬品の研究開発の実態 ～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～」
医薬産業政策研究所 前・主任研究員 高橋洋介
医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田法大

29日 政策研リサーチペーパー・シリーズ No.83 発行 「国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度に向けて」
医薬産業政策研究所 前・主任研究員 吉田晃子

29日 政策研リサーチペーパー・シリーズ No.84 発行 「デジタルメディスンの開発と健康医療データの利活用 ―医療・ヘルスケアの変革期における製薬産業のあり方―」
医薬産業政策研究所 前・主任研究員 辻井惇也

レポート・論文紹介（2024年3月～）

政策研リサーチペーパー・シリーズ No.82 発行

「医薬品の研究開発の実態 ～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～」

医薬産業政策研究所 前・主任研究員 高橋洋介

医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田法大（2024年3月）

【要旨】日本の製薬企業における研究開発の生産性の実態を分析することを目的にアンケート調査を実施した。「研究開発期間」「成功確率」「研究開発費用」の3つのパラメータについて要約統計量を算出し、各パラメータに影響を及ぼす要因分析を行うとともに、総合指標としての「1新薬を上市するための期待研究開発費用」を推計した。グローバル開発時における「研究開発期間」「成功確率」「研究開発費用」の概要は下図（省略）の通りであり、資本コスト10%を仮定した時の「1新薬を上市するための期待研究開発費用」は1415億円（2023年価格）と見積もることが出来た。本稿においては、この金額をどう捉えるべきであるのか、要因分析や過去調査との比較、感度分析等の手法を用いて、様々な視点から考察した。

【要旨】国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度とはどのようなものか。医薬品の多様な価値の評価により価値に基づく値付けがなされる。そして、研究開発が促進しその水準がさらに高まることでより幅広い価値エビデンスが創出される。創出された多様な価値が国民に届き続ける好循環となることこそ、本来国民に納得をもたらすものである。このような考えの下本稿では、国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度のあるべき姿は革新的な新薬の多様な価値に基づく値付けがなされることと、価値評価への患者・市民の参画（PPI）がなされることであると考え、革新的新薬の薬価算定ルールおよび薬価算定プロセス、価値エビデンスの創出、医薬品の価値等への国民の理解とPPIの4点について現状や問題認識を述べる。そして解決に向けた方向性として、革新的な新薬の薬価算定について、新たに【価値説明方式】と【客観性や透明性が高く、かつ患者・市民と共に意思決定するプロセス】を提言する。

【要旨】近年の医療・ヘルスケア分野におけるデジタル化の進展は目覚ましく、デジタルソリューションを日常からの健康管理や診断、治療等、広範に用いる動きが活発化している。また、医療機関やデジタルソリューション等を通じ取得される多種多様な健康医療データの利活用は、医療・ヘルスケアのあり方を、従来の「治療中心」から「予防、診断、治療、予後に至るライフコース全体」へ、そして「画一的な介入」から「個別・層別化された介入」へと変化させつつある。さらに、医薬品を含む医療技術の革新や最適な政策決定、医療資源の最適配分等への展開も期待される。このような潮流の中、製薬産業はどのように新たな技術と向き合い、どのようにデータを利活用し、どのように他のステークホルダーと連携し、社会に貢献していくべきであろうか。この医療・ヘルスケアのパラダイムシフトとも言うべき変化は、医薬品の創出により価値を提供してきた製薬産業のあり方にも大きな影響を与え、異業種との連携によるデジタルソリューションへの参入や創薬等の革新的イノベーション創出に対する健康医療データの利活用等、様々な変革の必要性を突き付けている。本稿は、我が国のより良い医療・ヘルスケアの実現を目指し、デジタルメディスン開発と健康医療データ利活用の観点から、関係するステークホルダーが取り組むべき施策を提言するとともに、医療・ヘルスケアの変革期における製薬産業のあり方に対して一つの方向性を提示する。

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
〈2024年4月1日より〉		〈2024年4月1日より〉
① 白石 隆啓（主任研究員）		① 吉野 九美（主任研究員）
② 田辺三菱製薬株式会社		② 日本新薬株式会社
③ 営業（MR）での入社以来、人事、マーケティング、秘書、経営企画、広報・IRといったいろいろなフィールドを経験してきました。これまでの自身の経験とこれからの新しいインプットをもとに、「医薬品の価値」を主なテーマとして研究し、製薬産業の更なる発展に向けて少しでも貢献できるよう、さまざまなデータや提言を発信してまいりたいと思います。		③ 入社後、低分子薬や核酸医薬の薬理研究を経験したのち、薬価や開発薬事の業務に従事してまいりました。モダリティの多様化やアンメットニーズの変遷等の創薬環境の変化がある中での、医薬品の価値評価制度の在り方に興味を持っています。政策研での活動を通して、イノベーションが適切に評価され、革新的新薬の創出が促進されるような制度・環境の整備に少しでも貢献したいと思います。
〈2024年4月1日より〉		〈2024年4月1日より〉
① 富樫 満里子（主任研究員）		① 渡邊 奈都子（主任研究員）
② アステラス製薬株式会社		② Meiji Seika ファルマ株式会社
③ 臨床開発および薬事部門において、製品の開発初期段階から承認申請、市販後の維持管理に至る一連の業務に携わり、薬事規制に関する知識を深めてまいりました。また、添付文書やプロモーション資材の審査など、医薬品規制のさまざまな側面に触れ、業界の動向や変遷を見てまいりました。 近年、製薬業界が抱えるドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスや医療情報活用に関する課題は、単一の対策では解決が難しい複雑な状況にあります。私はこれらの課題に取り組み、これまで培ってきた経験や知識を活かして、製薬産業における研究活動や政策提言に積極的に貢献していきたいと考えております。		③ 入社後、MRとして営業活動を経験後、マーケティング部門で9年間、医薬品市場データやRWDの分析、医療従事者・患者・消費者等への市場調査業務に従事してまいりました。 近年、医療DXの推進や医療情報の二次利用へ向けた基盤構築・法整備が進み、医療情報の利活用への機運が高まっています。医療情報の利活用が製薬企業のイノベーション創出、ひいては社会や経済に与えるインパクトに着目し、医薬産業政策研究所での研究活動を通じて、医療情報の利活用がもたらす未来の実現に少しでも貢献していきたいと思っています。

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
2024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