

政策研ニュース No.73

OPIR Views and Actions

2024年11月

目次

目で見る製薬産業

日米欧の新薬承認状況の比較（2023年）

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 富樫満里子…… 1

近年における国際共同治験の動向調査

－2023年までの動向とアジア地域について－

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 白石 隆啓……12

NDB オープンデータから見たがん医療技術の推移

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治……22

Points of View

補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移

－2024年度薬価制度改革後の収載3回分を含めた調査－

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美……39

英国 NICE における HST の評価結果と ICER の他に意思決定に考慮された要素について

医薬産業政策研究所 主任研究員 白石 隆啓
医薬産業政策研究所 主任研究員 三浦 佑樹……52

医療情報の利活用がもたらす波及効果

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……60

製薬企業ニュースリリースに見る最近の医療情報利活用の動向

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子……69

政策研だより

主な活動状況（2024年7月～2024年10月）……………75

レポート・論文紹介（2024年7月～）……………76

日米欧の新薬承認状況の比較（2023年）

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 富樫満里子

要約

- 2023年に日米欧で承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について調査した。
- 2023年の国内の全承認品目数は106品目、NME数が30品目であった。米国では全承認品目数が128品目、NME数が55品目であった。欧州では全承認品目数が140品目、NME数が36品目であった。
- 日本では薬事上の特別措置をうけた NME 数が2022年と比較して減少した。
- 日本の審査期間の中央値は全承認品目で10.3か月、NME で10.9か月であり例年並みであったが、欧米と比較して最小であった。
- 2023年に新規に承認された再生医療等製品の数 は日本 3 品目、米国 6 品目、欧州 1 品目であり米国の承認数が最多であった。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、日本、米国、及び欧州の医薬品の承認情報に関して、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）、U.S. Food and Drug Administration（FDA）及びEuropean Medicines Agency（EMA）がホームページ等で公表

する情報をもとに継続的に収集、分析している¹⁾。政策研ニュース第68号²⁾では2022年に日本で承認された医薬品情報に関する分析結果を、政策研ニュース第70号³⁾では2022年の承認実績を中心に日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較分析結果を報告した。本稿では、2023年に日本、米国、及び欧州で承認された新薬の承認数、薬事上特別措置件数及び審査期間に関して報告する。

2. 調査方法

日本の調査対象は PMDA ホームページの「新医薬品の承認品目一覧」⁴⁾に掲載されている医薬品とし、品目数は審査報告書ごとにカウントすることを基本に、同一成分の品目を複数企業が同時申請した場合や併用薬物療法にて複数成分が承認された場合は1品目として集計した。日本承認品目における New Molecular Entity（NME）の集計は、申請区分が新有効成分含有医薬品に該当するものを対象とした。各品目の承認情報は、審査報告書、添付文書、「新医薬品の承認品目一覧」及び薬務公報から抽出した。申請日は審査報告書に記載される申請日とし、承認日は「新医薬品の承認品目一覧」に記載された承認日とした。

米国の調査対象は、FDA ホームページの

1) 医薬産業政策研究所、「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績」、リサーチペーパー・シリーズ No.69（2016年11月）
2) 医薬産業政策研究所、「日本で承認された新医薬品とその審査期間－2022年承認実績と経年動向調査－」、政策研ニュース No.68（2023年3月）
3) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較」、政策研ニュース No.70（2023年11月）
4) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、承認情報、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>（参照：2024/09/20）

「CDER Drug and Biologic Approvals for Calendar Year」⁵⁾に掲載されているNew Drug Application (NDA) 及び Biologic License Application (BLA)に該当する医薬品とした。NMEの集計は、「CDER New Molecular Entity (NME) and Original Biologic Approvals Calendar Year」⁶⁾に掲載されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、FDAホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目の Approval Letter に記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載された Approval Date とした。

欧州の調査対象は、EMA が中央審査方式にて承認し、「European Medicines Agency Annual Reports」⁷⁾に掲載された医薬品を対象とした。NME の集計は、「New active substance」に分類されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、EMA ホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目の Assessment Report に記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載された Marketing authorization issued の日付とした。

薬事上の特別措置として、日本では優先審査、希少疾病用医薬品、先駆け審査指定制度⁸⁾、条件付き承認制度⁹⁾、迅速審査を、米国では Priority Review、Orphan、Fast Track、Breakthrough Therapy、Accelerated Approval を、欧州では Accelerated Assessment、Orphan、Priority Med-

icine (PRIME)、Conditional Approval、Exceptional Circumstances を対象に集計した。各薬事上の特別措置の内容は補足 1 にまとめた。

審査期間については、標準的な統計解析ソフト Stata/IC 14.2 for Windows (Stata Corp LP, College Station, TX, USA) を使用し、申請日から承認日までの期間を“審査期間”として算出した。期間が著しく長い品目や特例により短い品目が存在することから、主たる基本統計量は中央値とし、サンプル数、平均値、標準偏差を併記した(補足 2～4)。

本稿における日本及び米国の承認数の集計対象は上記のとおりであり、再生医療等製品については対象外である。一方で欧州の集計対象には再生医療等製品に相当する品目も含まれる。再生医療等製品の承認数の推移をみるため、新規に承認された再生医療等製品数については以下を対象に別途集計した。日本は、PMDAホームページの「新再生医療等製品の承認品目一覧」¹⁰⁾に掲載されている品目のうち承認・変別が「承認」または「新規」として記載された品目を対象とした。米国は、FDA ホームページの「Approved Cellular and Gene Therapy Products」¹¹⁾に掲載されている品目を対象として初回の承認を受けた年を承認年として集計した。欧州は、ATMP (Advanced therapy medicinal products) 指定¹²⁾を受けて承認された品目に加え、日米の上記集計に該当する品目を対象

5) Food and Drug Administration (FDA)、NDA and BLA Calendar Year Approvals、<https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/nda-and-bla-calendar-year-approvals> (参照：2024/09/20)

6) Food and Drug Administration (FDA)、New Molecular Entity (NME) Drug and New Biologic Approvals、<https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/new-molecular-entity-nme-drug-and-new-biologic-approvals> (参照：2024/09/20)

7) European Medicines Agency、Annual reports and work programmes、<https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes> (参照：2024/09/20)

8) 先駆け審査指定制度は、2019年11月に改正薬機法が成立、2020年9月に施行されたことで法制化され、新たに先駆的医薬品等指定制度として創設された。<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/0003.html> (参照：2024/09/20)

9) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、医薬品の条件付き承認制度への対応、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/0045.html> (参照：2024/09/20)

10) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、新再生医療等製品の承認品目一覧、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/ctp/0004.html> (参照：2024/09/20)

11) Food and Drug Administration (FDA)、Approved Cellular and Gene Therapy Products、<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products> (参照：2024/09/20)

12) European Medicines Agency Advanced therapy medicinal products : Overview、<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview> (参照：2024/09/20)

表 1 新医薬品の承認品目の承認品目数とその内訳（承認年毎；2010～2023年）

品目特性		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	Total
承認品目数		104	131	120	124	137	106	125	85	109	130	125	135	174	106	1711
部会 区分	部会審議品目	71	74	82	70	100	71	96	49	67	79	80	97	89	59	1084
	部会報告品目	33	57	38	54	37	35	29	36	42	51	45	38	85	47	627
申請 区分	新有効成分含有医薬品（NME）	33	38	45	32	60	38	52	24	37	39	38	52	52	30	570
	(%)	(31.7)	(29.0)	(37.5)	(25.8)	(43.8)	(35.9)	(41.6)	(28.2)	(33.9)	(30.0)	(30.4)	(38.5)	(29.9)	(28.3)	(33.3)
	新医療用配合剤	8	5	3	6	8	2	8	2	5	5	5	2	2	0	61
	新投与経路医薬品	7	5	8	7	8	2	6	4	4	6	6	5	10	5	83
	新効能医薬品	34	59	41	57	46	51	45	36	40	45	58	51	86	52	701
	新剤形医薬品	3	2	1	3	0	3	1	2	1	3	2	0	2	1	24
	新用量医薬品	16	22	20	16	8	9	11	14	15	18	12	21	17	15	214
	バイオ後続品	1	0	1	1	3	0	1	2	6	8	2	4	2	3	34
	類似処方医療用配合剤	2	0	1	2	3	0	1	1	1	1	2	0	1	0	15
	その他の医薬品	0	0	0	0	1	1	0	0	0	5	0	0	2	0	9
	通常審査品目（迅速処理品目含む）	89	116	97	104	94	76	86	61	71	92	91	82	129	75	1263
	優先審査品目	13	15	23	20	43	30	39	24	38	38	33	44	37	27	424
	うち、希少疾病用医薬品	10	9	18	14	33	24	33	19	32	35	23	40	31	22	343
	うち、希少疾病以外の優先審査品目	3	6	5	6	10	6	6	5	6	3	10	4	6	5	81
	うち、先駆け審査指定制度対象品目	—	—	—	—	—	—	—	—	3	2	5	2	1	0	13
	うち、条件付き承認制度対象品目	—	—	—	—	—	—	—	—	2	0	3	0	0	0	5
	迅速処理品目	12	41	25	24	13	9	5	11	9	13	3	11	46	13	235
	うち、事前評価済公知申請品目	10	34	23	21	10	4	5	5	9	5	3	3	28	7	167
	特例承認／緊急承認に係る品目	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	9	8	4	24

注 1：複数の申請区分に該当する品目は上位の区分に含めた。

注 2：希少疾病用医薬品（HIV を除く）、HIV 感染症治療薬、希少疾病以外の優先審査品目を「優先審査品目」とした。

注 3：迅速審査品目及び事前評価済公知申請品目を「迅速処理品目」とした。

注 4：希少疾病用医薬品かつ迅速審査品目は、希少疾病用医薬品の区分を優先し「優先審査品目」とした。

注 5：特例承認として承認を受けた2010年の 2 品目、2020年の 1 品目、2021年の 9 品目、2022年の 7 品目及び2023年の 4 品目は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅速には分類せずに「特例承認に係る品目」とした。

注 6：2022年緊急承認 1 品目は、特例承認品目と同じ区分に合算して集計した。

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

とした。

3. 結果

(1) 国内新医薬品の承認品目数とその内訳

2010～2023年の間に日本で承認された新医薬品の承認品目数の年次推移、及び品目の内訳を表 1 に示した。2023年には106品目が承認され、そのうち新有効成分含有医薬品は30品目であった。

新有効成分含有医薬品以外の申請区分別の内訳では、新効能医薬品が52品目、新用量医薬品が15品目、新投与経路医薬品が5品目、新剤形医薬品が1品目、バイオ後続品が3品目であった。

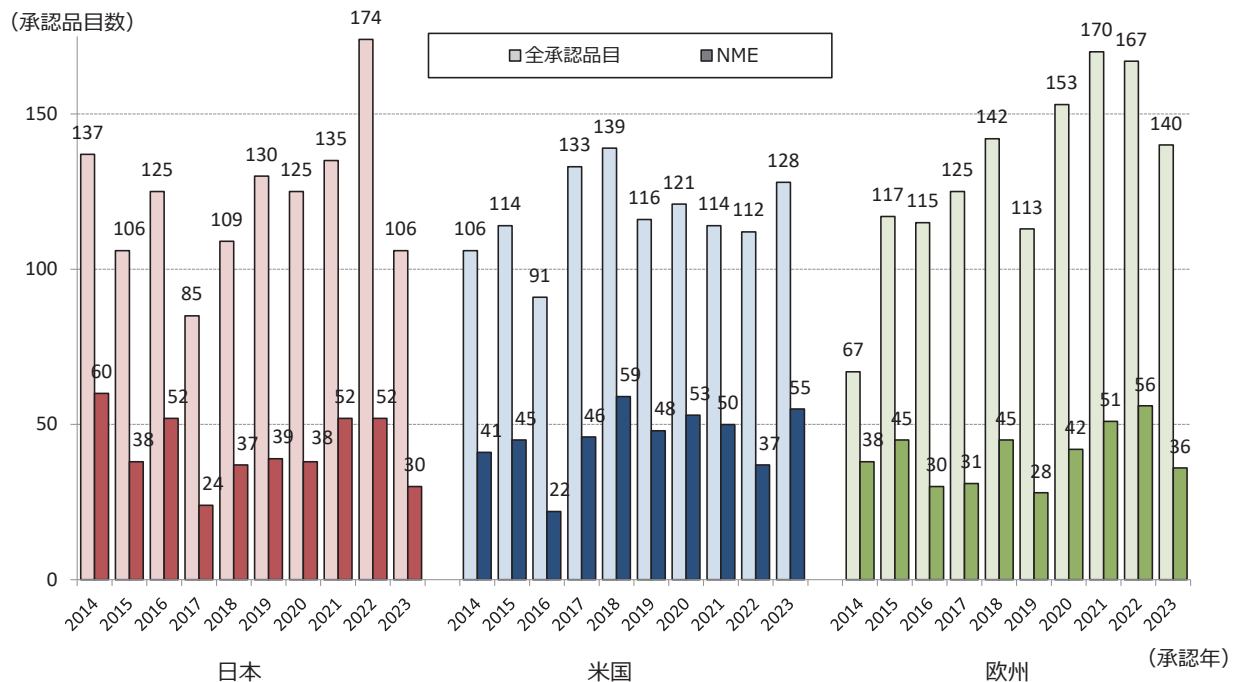
審査区分別の内訳では、通常審査品目が75品目、優先審査品目は27品目であった。優先審査品目のうち、希少疾病用医薬品は22品目であった。希少疾病用医薬品は集計期間内では2021年に40品目と承認数が最多となったが、2023年はこの半数程度の22品目であり、2022年と比較しても9品目減少した。先駆け審査指定制度対象品目（現在は先駆

的医薬品等指定制度）及び条件付き承認制度対象品目の承認数はそれぞれ0品目であった。迅速処理品目の承認数は13品目あり、このうち事前評価済公知申請品目は7品目であった。2023年の特例承認数はのべ4品目あり、いずれも新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）による感染症の予防を効能・効果とする品目についての承認であった。

(2) 新医薬品の承認品目数の日米欧比較

過去10年間（2014～2023年）の日本、米国、及び欧州で承認された新医薬品の承認品目数を図 1 に示した。米国では2023年に128品目が承認され、そのうち NME は55品目であった。欧州では2023年に140品目が承認され、そのうち NME は36品目であった。米国の2023年の NME 数は2022年に比べて18品目増加し、全承認品目数も増加したが、日欧では2022年に比べて NME がそれぞれ22品目、20品目減少し、全承認品目数も減少した。

図1 過去10年間の日米欧の承認品目数



注：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

(3) 薬事上の特別措置を受けた NME 承認品目数

日米欧で過去5年間（2019～2023年）に承認された NME のうち、各地域の薬事上の特別措置を受けた品目数について図2に示した。

2023年に日本で承認された NME 30品目中、優先審査（希少疾病用医薬品を含む）は10品目（33.3%）、希少疾病用医薬品は7品目（23.3%）、先駆け審査指定制度、条件付き承認制度及び迅速審査の対象はいずれも0品目であった。2023年の NME数は2022年より減少しており、優先審査、希少疾病用医薬品に該当した NME 数も2022年と比較して減少した。

米国では、2023年に承認された NME55品目中、Priority review は33品目（60.0%）、Orphan 指定品目は28品目（50.9%）、Fast Track指定品目は25品目（45.5%）、Breakthrough Therapy 指定品目は9品目（16.4%）、Accelerated approval は9品目（16.4%）であった。2023年の米国 NME 数は2022年より増加しており、薬事上特別措置を受けた NME 数も Breakthrough Therapy 以外では2022年より増加した。

欧州では、2023年に承認された NME 36品目中、

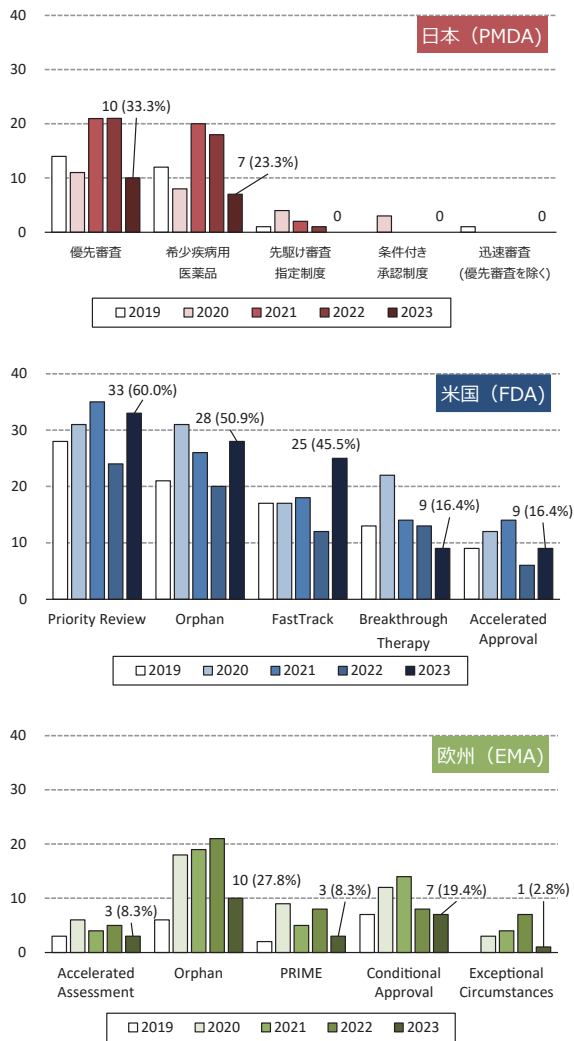
Accelerated Assessment は3品目（8.3%）、Orphan 指定品目は10品目（27.8%）、PRIME 指定品目は3品目（8.3%）、Conditional Approval は7品目（19.4%）、Exceptional Circumstances は1品目（2.8%）であった。欧州は2023年の NME 数が2022年より減少しており、薬事上特別措置を受けた NME 数についても減少していた。

(4) 審査期間の中央値の年次推移

日本、米国、及び欧州で承認された医薬品の承認年毎（2000～2023年）の審査期間の中央値の年次推移を図3に示した。NME については日本の審査期間が大幅に短縮した後の2013年から2023年の期間を調査対象とし、審査期間の中央値の年次推移を図4に示した。審査期間、中央値、平均値、標準偏差に関しては補足2及び補足3に示した。NME のうち審査期間の短縮を目的とした薬事上の特別措置（日本：優先審査、米国：Priority review、欧州：Accelerated Assessment）を受けた品目の審査期間については補足4に示した。

調査対象の全期間における審査期間の中央値は、日本10.9か月、米国10.2か月、欧州13.2か月で

図2 薬事上特別措置を受けた NME 数



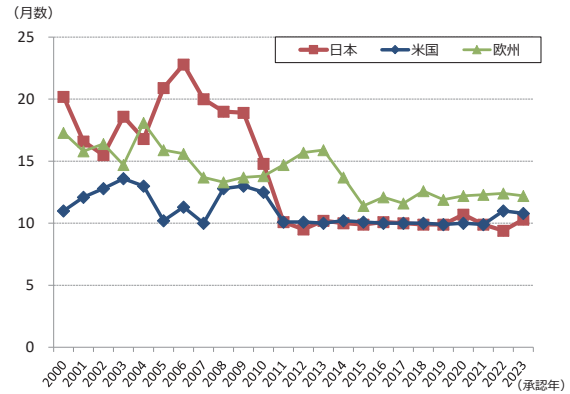
出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

注：（ ）内の数値は当該年の NME 数に対する割合

あった。2023年は日本10.3か月、米国10.8か月、欧州12.2か月であり、中央値は日本が最小となった(補足2)。年次推移では図3のとおりに日本は2011年に大幅な審査期間の短縮が行われて以来、審査期間の中央値は概ね10か月程度で維持されている。

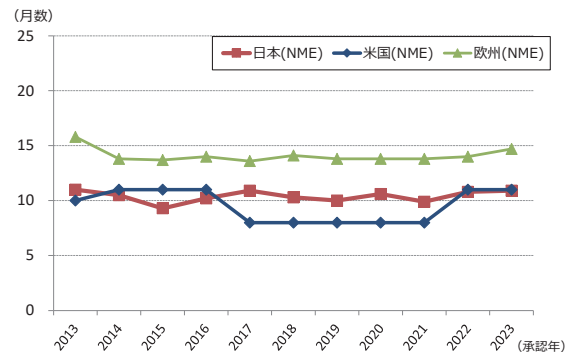
NME について調査対象の全期間における審査期間(中央値)は、日本10.3か月、米国9.9か月、欧州14.1か月であった。2023年の審査期間(中央値)は、日本10.9か月、米国11.0か月、欧州14.7か月であり、NME についても中央値は日本が最小となった(補足3)。年次推移では図4のとおりに日米欧ともに集計期間内に大きな変動はなかった。さらに、審査期間別の NME 承認数を図5に示し

図3 審査期間(中央値)の年次推移(全承認品目)



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

図4 審査期間(中央値)の年次推移(NME)



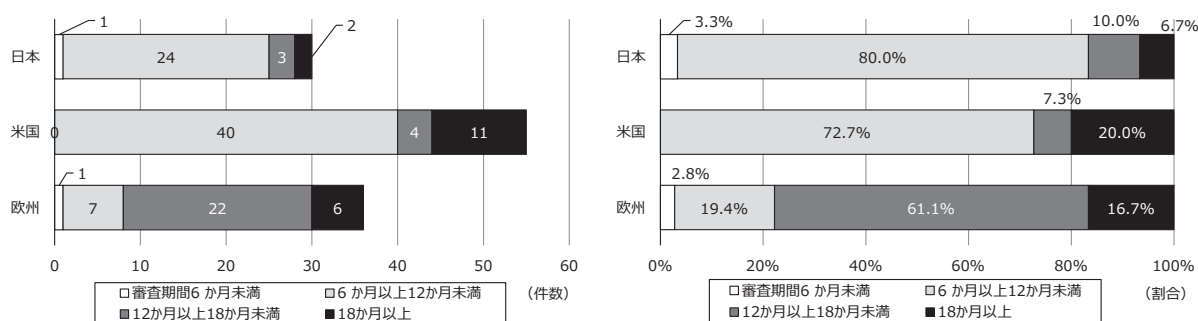
出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

た。日米では審査期間が6か月以上12か月未満となる NME が最も多く、欧州では12か月以上18か月未満が最多となった。

(5) 再生医療等製品の承認数の日米欧比較

日本、米国、及び欧州で承認された再生医療等製品に相当する品目の新規承認数(2015～2023年)及び2023年末時点で日米欧いずれか2極以上の承認を受けた品目数を図6に示した。日本では2015年から2023年までに18品目が新規に承認を受けており、うち8品目は欧米いずれかまたは両方で承認を受けた品目であった。米国及び欧州では2015年から2023年までにそれぞれ25品目及び21品目が新規に承認を受けており、それぞれ13品目、14品目が2023年末までに日米欧の2極以上で承認を受けていた。

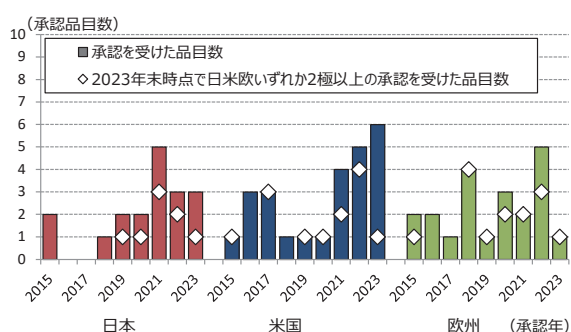
図5 審査期間別 NME 承認数の日米欧比較



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

注：左図は件数、右図は当該年の NME 数に対する割合

図6 再生医療等製品の新規承認数(2015～2023)



注：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。

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

近年は日米欧いずれにおいても新規に承認を受けた品目数が増加しているが、2023年については米国で6品目と過去最多の承認数となり、日本は3品目で2022年と同数、欧州は1品目に減少していた。

4. まとめ・考察

本稿では、日本、米国、及び欧州で2023年に承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について、それぞれの規制当局の公表情報を元に集計、比較調査した。

日本の2023年の承認品目数は、全承認品目数と NME 数のいずれも2022年と比べて減少した。欧州も同様の傾向であったが、米国については全承

認品目数、NME 数のいずれも2022年を上回った。また、直近数年の NME 数の推移を見ると、米国は2020年、2021年に53品目、50品目と多く、2022年は37品目と少なかった。日本と欧州では、米国から1年遅れて2021年と2022年の NME 数が50品目超となり、2023年は減少した。過去の政策研ニュース第63号¹³⁾で報告したとおり、2020年時点で米国では世界初上市品の割合が過半数を占め、日本と欧州では2番手または3番手に上市される品目の割合が高かった。2極以上で承認を得るグローバル製品において米国で最初に承認を得た後に日本または欧州で承認を得るような企業行動が NME 数の推移にも影響したと考えられる。

薬事上の特別措置をうけた NME 数については、NME 数の推移と同様に日本と欧州では2022年より全体的に減少し、米国では増加した。日本においては、先駆け審査指定制度、条件付き承認制度、迅速審査に該当する NME 承認数が2023年度はいずれも0件であった。革新的な医薬品を日本国内へ迅速に導入することは重要であるが、図2で NME 承認数が比較的多かった先駆け審査指定制度であっても過去5年間で8件、NME 数に対して3.8%に留まっていた。開発時点から当局の指導を受けられる点で先駆け審査指定制度と類似する米国の Breakthrough Therapy 及び欧州の PRIME と比べると、同期間で Breakthrough Therapy に該当する NME 数は71件 (NME 数に対して29.2%)、

13) 医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ：国内 NME 承認品目の上市状況～米国・欧州との上市時期比較」、政策研ニュース No.63 (2021年7月)

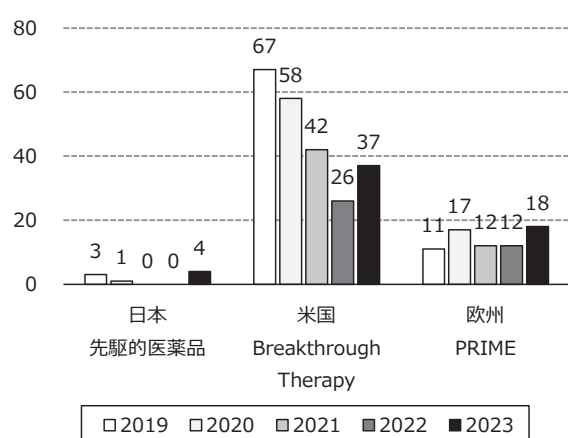
PRIME に該当する NME 数は27件（NME 数に対して12.7%）あり、いずれも日本と比較して多かった。図7に過去5年間にこれらの薬事上特別措置の指定を新たに受け、現時点で有効な件数を示した。日本は8件⁸⁾、米国は230件¹⁴⁾、欧州70件¹⁵⁾であり、承認数との直接比較はできないものの指定件数そのものが欧米では多かった。

一方で、図8に直近2年間で米国Breakthrough Therapy 及び欧州 PRIME 指定を受けた NME 承

認品目の日本への導入状況を示したが、8割以上が日本国内で承認済みまたは開発中であった。このことから、欧米で画期的新薬として薬事上特別措置を受けた医薬品の日本への導入が現状著しく遅れているというわけではないが、日本発または日本が一番手となるような新薬を生み出すためには先駆的医薬品指定制度などもより一層活用されることが望ましい。欧米と比較して指定件数が少ない現状については、原因の分析や制度面での見直し検討が必要かもしれない。

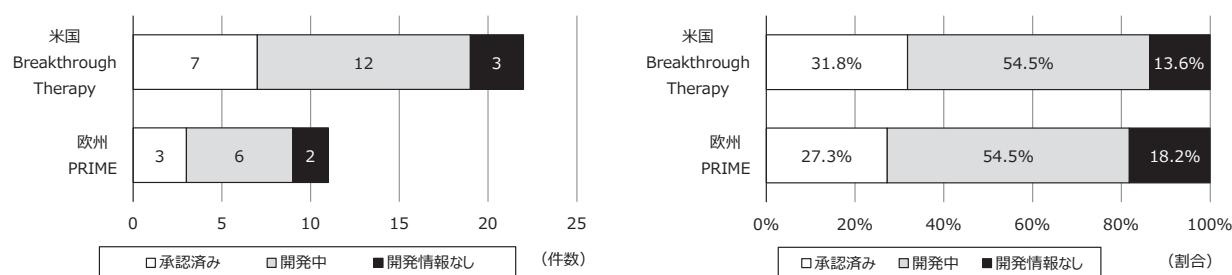
審査期間については、全承認品目と NME のいずれも平年並みであり、各極ともに10～15か月であった。本稿で分析した審査期間は申請資料提出日から承認日までとしており、日米欧の各当局から発行される各種レポートにおける審査期間とは一部異なり、当局からの照会事項に対応する時間も含めて審査期間としたものである。例えば2023年の米国の承認品目には、初回の申請日が古く10年を超える審査期間となる品目も含むため、補足2及び補足3で示す審査期間の標準偏差は大きい。本稿の分析において2023年の日本の審査期間の標準偏差は比較的小さく、また2023年の日本の審査期間の中央値は日米欧で最小となった。図5のとおり2023年の日本の NME30品目のうち、審

図7 先駆的医薬品、Breakthrough Therapy、PRIME 指定件数



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

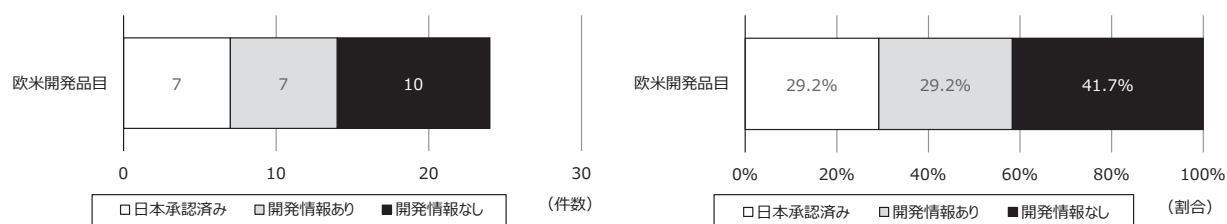
図8 2022～2023年に薬事上特別措置を受けて承認された欧米NMEにおける2023年末時点の日本への導入状況



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報及び「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：左図は件数、右図は米国 Breakthrough Therapy 該当 NME 数および欧州 PRIME 該当 NME 数に対する割合

- 14) Food and Drug Administration (FDA)、CDER Breakthrough Therapy Designation Requests Received by Fiscal Year, <https://www.fda.gov/media/95292/download> (参照：2024/09/20) fiscal year 2019～2023の期間で“Granted”の数を集計した。
- 15) European Medicines Agency、PRIME：priority medicines, <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/prime-priority-medicines> (参照：2024/09/20) 2019～2023年に指定を受けた件数を集計し、取り下げのものは集計から除外した。

図9 欧米で承認済みまたは開発中の再生医療等製品相当の品目における2023年末時点の日本への導入状況



出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報及び「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1：2015～2023年に欧米で承認された品目のうち、欧米両方で承認済み、米国承認済み欧州開発中、および欧州承認済み米国開発中、となる24品目を“欧米開発品目”とした。

注2：左図は件数、右図は欧米で承認済みまたは開発中の品目（24品目）に対する割合。

査期間が12か月以上は5品目（16.7%）のみで、6か月以上12か月未満は24品目（80.0%）であり、8割以上が申請日から起算して12か月で承認を得ていた。世界初承認を受ける事例が多い米国では申請から承認までの期間が長くなる可能性があるが、2～3番手に申請する事例が多い欧州と日本の比較でも日本の審査期間の方が短かった。欧米と同等以上に審査期間が短く、当局の設定する目標期間¹⁶⁾内に審査完了が見込めるという点は、新薬上市に向けた開発タイムライン上の予見性も高まることから、日本の審査制度の優れた点であると言える。

新規に承認された再生医療等製品数は近年増加傾向であるが、2023年は米国の6品目が最多であり、日本は3品目、欧州は1品目と2022年より減少した。また、2023年末時点で2極以上の承認を得たグローバル製品の承認数は日米欧ともに1品目であった。図6で示した欧米の承認品目のうち欧米両方で承認済みまたは欧米開発中となる24品目を抽出し日本での開発情報の有無を調査したところ（図9）、14品目（58.3%）が日本承認済みま

たは開発中である一方、10品目（41.7%）は日本での開発情報が得られなかった。医薬品のみならず再生医療等製品においても一部の製品においては日本での開発が遅れるか、日本には導入されない状況が懸念される。治験環境整備など昨今のドラッグラグ・ロス対策の議論に加えて、再生医療等製品特有の各種課題解決に向けた対策が進められることを期待する。

5. おわりに

本稿では、日本、米国、及び欧州で2023年に承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について比較調査した。2023年の承認数は米国に及ばないものの欧州と同程度であった。2023年は薬事上特別措置を受けた承認数が他極に比べて日本では少なく、審査期間の中央値は日本が最小となった。欧米と比較した日本のこのような特徴が今後の日本の承認数、特に日本への導入への早さにどのように影響するかは興味深く、今後も継続調査する。

16) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構中期計画、<https://www.pmda.go.jp/files/000267756.pdf>（参照：2024/09/20）

補足 1 日米欧の薬事上の特別措置の説明

	特別措置の種類	対象	特別措置の内容
日本	優先審査	希少疾病用医薬品は指定されると自動的に優先審査品目になる。それ以外は重篤な疾病で医療上の有用性が高い（医療の質の向上に明らかに寄与）と認められた品目。	総審査期間の目標が、通常の12か月から9か月に短縮される。
	迅速審査	迅速に審査する必要があると当局から判断されたもの（優先審査とは別）。事前評価済公知申請品目は自動的に迅速審査扱い。承認申請者の申請に基づく指定ではない。	迅速審査のプロセスが適用される。
	希少疾病用医薬品	日本で対象患者数が5万人未満であること（あるいは指定難病）、医療上特にその必要性が高い、対象疾病に対する当該品目の開発計画が妥当であること。	助成金交付、優先対面助言、優先審査（総審査期間の目標：9ヶ月）、再審査期間延長（最長10年）、税額控除などの支援措置を受けられる。
	条件付き承認制度	4つの要件をすべて満たす（①対象疾患の重篤性②医療上の有用性③検証的臨床試験実施の困難さ④検証的臨床試験以外の試験等での一定の有効性・安全性の確認）。	製造販売後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を条件として付され、承認される。優先対面助言、優先審査。
	先駆け審査指定制度	4つの要件をすべて満たす（①治療薬の画期性②対象疾患の重篤性③対象疾患に係る極めて高い有効性④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制）。	優先相談（優先的な治験相談品目としての取り扱い）、事前評価の充実（先駆け総合評価相談を受ける）、優先審査（総審査期間の目標が6ヶ月に設定）、コンシェルジュ（審査パートナー）、再審査期間の延長（最長10年）。
	特例承認	海外で流通している医薬品等（緊急時に健康被害の拡大を防止するため、当該医薬品等の使用以外に適当な方法がない場合）。	有効性と安全性の両方を早急に「確認」し、迅速な承認を行う。GMP 調査・国家検定・容器包装の表示などには特例措置が認められることがある。
	緊急承認	すべての医薬品等（緊急時に健康被害の拡大を防止するため、当該医薬品等の使用以外に適当な方法がない場合）。	海外でまだ流通されていない医薬品等も対象とし、有効性が「推定」できれば承認可能となる。緊急性に係る要件に該当する医薬品については、機構における審査、調査、事前相談において最優先で取り扱われる。GMP 調査・国家検定・容器包装の表示などには特例措置が認められることがある。
米国	Priority Review	有効性あるいは安全性に重大な改善をもたらすような臨床成績が得られた新薬。	標準的審査期間が6か月（通常は10か月）と設定。
	Accelerated Approval	重篤疾患を対象に、サロゲート／中間的エンドポイントの成績から、Unmet Needsを満たすことが想定されるような新薬（患者へのアクセスを早めることが目的）。	臨床的ベネフィットが十分証明されていない段階で審査、承認される。ただし、第四相試験が課せられる。（なお、試験の結果、当初想定したような Clinical Benefit が得られなかった場合は、取り下げ、あるいは効能など添付文書の変更となる。）
	Orphan	米国で患者数が原則20万人に満たない疾患に対して開発される新薬。	医薬品指定を受けると税制優遇、助成金、申請手数料免除、プロトコル相談などの優遇を受けることができる。 *別途 Priority Review 指定が必要。
	Fast Track	重篤な疾患に対してUnmet Needsを満たす、あるいは既存薬がない、既存治療を上回る可能性のある新薬。	開発から審査に至るまで、FDA が特別にサポートする制度。開発中はFDAとのMeetingなどを持つ機会が増える。 *別途 Priority Review 指定が必要。
	Breakthrough Therapy	FastTrack より更に本質的革新をもたらすような画期的新薬の可能性のあるものを指定する。	Fast Track で得られる措置に加え、経験豊かな審査担当が直接携わるなどの優遇策が図られる。 *別途 Priority Review 指定が必要。
欧州	Accelerated Assessment	公衆衛生上大きな Benefit をもたらす画期的な新薬。	150日でCHMPの見解が得られる特別なタイムクロックが与えられる。
	Orphan	EU 内で患者が1万人中5人以下、重篤・慢性的かつ認可された代替治療のない疾患を対象とする新薬。	プロトコルへの助言、各種手数料の減額や研究開発費の補助、10年間の市場独占権など。なお、審査期間について、特別なタイムラインを規定されていない。
	Conditional Approval	重篤な疾患に対する医薬品、公衆衛生上緊急性の高い医薬品、オーファンのいずれかで、3つの条件に全てに適合。	臨床データが不足していても、承認後のデータ取得義務を課すことを条件に承認を与える。 *追加の試験成績にて有効性・安全性が確認された段階で通常承認
	Exceptional Circumstances	特別な理由（臨床情報が収集困難、倫理的に許されない等）により通常必要となる情報が十分収集できない場合。	臨床データが不足していても、制限付きで承認を与える。市販後の追加情報が求められ、使用範囲も非常に限定される。 *データ取得が困難であり、状況解除はない。
	PRIME	①既存治療より有用性が大きく上回る又は治療選択肢のない患者への効果②早期臨床でUnmet Medical Needs を有する患者に利益をもたらす potential を示す。	EMA 審査官への面会、審査チーム、専門家チームによる kick-off meeting を組織、専用連絡先の設定、各マイルストーンでの scientific advice、申請の段階での Accelerated Assessment の確認 等。

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

補足2 審査期間（月数）の推移（全承認品目；2000年～2023年）

承認年	日本（PMDA）				米国（FDA）				欧州（EMA）			
	N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）		
		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差
2000	70	20.2	28.1	21.9	98	11.0	16.4	15.7	20	17.3	17.1	3.8
2001	56	16.6	24.0	19.0	66	12.1	16.7	10.9	34	15.8	15.3	4.9
2002	62	15.5	20.9	18.9	77	12.8	18.9	14.9	28	16.4	16.4	2.5
2003	47	18.6	20.8	14.9	73	13.6	20.6	19.7	14	14.7	15.6	4.9
2004	46	16.8	18.2	14.8	107	13.0	19.2	14.8	31	18.1	18.2	5.0
2005	61	20.9	20.4	14.3	74	10.2	18.2	18.1	20	15.9	16.0	3.7
2006	72	22.8	28.7	19.9	92	11.3	20.5	18.1	39	15.6	16.2	4.8
2007	83	20.0	25.1	20.7	65	10.0	15.8	14.0	57	13.7	13.6	4.4
2008	78	19.0	20.0	11.0	79	12.8	18.9	24.0	50	13.3	13.0	5.5
2009	94	18.9	19.5	8.6	87	13.0	21.5	30.3	64	13.7	13.9	5.7
2010	104	14.8	18.5	20.1	82	12.5	20.3	23.5	31	13.8	13.7	6.5
2011	131	10.1	11.7	7.8	85	10.1	16.4	13.3	52	14.7	14.2	5.9
2012	120	9.5	9.4	3.7	89	10.1	15.7	15.5	37	15.7	15.9	5.3
2013	124	10.2	9.9	6.8	93	10.0	15.6	14.9	65	15.9	16.4	5.5
2014	137	10.0	10.5	3.9	106	10.2	15.7	15.0	67	13.7	14.1	6.1
2015	106	9.9	11.4	19.2	114	10.1	16.4	17.7	117	11.4	11.9	4.7
2016	125	10.1	10.3	3.4	91	10.0	14.4	12.7	115	12.1	12.4	4.4
2017	85	10.0	9.9	3.4	133	10.0	13.8	16.5	125	11.6	12.4	6.2
2018	109	9.9	9.7	4.8	139	10.0	19.3	21.7	142	12.6	12.9	5.4
2019	130	9.9	9.9	3.3	116	9.9	14.3	20.1	113	11.9	12.3	5.1
2020	125	10.7	10.6	5.7	121	10.0	16.5	18.8	153	12.2	12.1	4.4
2021	135	9.9	9.8	2.6	114	9.9	14.9	15.4	170	12.3	11.8	4.6
2022	174	9.4	9.1	3.6	112	11.0	19.5	21.2	167	12.4	12.6	5.7
2023	106	10.3	11.0	8.6	128	10.8	22.7	32.6	140	12.2	12.9	5.2
合計	2380	10.9	14.1	12.9	2341	10.2	17.5	19.4	1847	13.2	13.2	5.4

注1：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。

注2：日本の2010年の特例承認2品目、2020年の特例承認1品目、2021年の特例承認9品目、2022年の特例承認7品目及び緊急承認1品目、2023年の特例承認4品目は通常の審査プロセスと異なるため、承認品目数にのみ含めた。

注3：欧州で申請日情報の得られなかった品目については承認品目数にのみ含めた。

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

補足3 審査期間（月数）の推移（NME；2013年～2023年）

承認年	日本 NME（PMDA）				米国 NME（FDA）				欧州 NME（EMA）			
	N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）		
		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差
2013	32	11.0	12.7	11.9	27	10.0	12.8	13.3	40	15.8	16.2	2.9
2014	60	10.5	11.3	4.4	41	11.0	13.1	10.3	38	13.8	15.2	5.6
2015	38	9.3	9.8	1.9	45	11.0	14.6	17.0	45	13.7	13.9	3.5
2016	52	10.2	10.5	3.9	22	11.0	10.0	3.7	30	14.0	14.3	4.3
2017	24	10.9	11.4	3.7	46	8.0	10.9	7.5	31	13.6	15.1	8.3
2018	37	10.3	10.7	7.0	59	8.0	9.7	5.3	45	14.1	15.8	5.3
2019	39	10.0	10.9	4.8	48	8.0	14.9	25.8	28	13.8	15.5	5.5
2020	38	10.6	11.2	8.9	53	8.0	11.1	8.6	42	13.8	13.3	4.4
2021	52	9.9	10.3	3.0	50	8.0	10.3	5.1	51	13.8	12.9	5.9
2022	52	10.8	11.3	4.4	37	11.0	17.7	25.3	56	14.0	13.8	5.2
2023	30	10.9	13.0	13.3	55	11.0	18.9	38.0	36	14.7	15.0	5.2
合計	454	10.3	11.0	6.6	483	9.9	13.1	18.7	442	14.1	14.5	5.3

注1：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。

注2：2020年の特例承認1品目、2021年の特例承認6品目、2022年の特例承認2品目及び緊急承認1品目は通常の審査プロセスと異なるため、承認品目数にのみ含めた。

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

補足 4 薬事上特別措置を受けたNMEの審査期間

	承認年	NME			
		N	審査期間（月数）		
			中央 値	平均 値	標準 偏差
日本（PMDA）					
優先審査*	2022年	21	9.1	10.3	5.8
	2023年	10	8.4	9.0	4.8
通常審査	2022年	28	11.1	12.1	2.7
	2023年	20	11.1	15.0	15.7
米国（FDA）					
Priority review	2022年	24	8.0	16.9	31.0
	2023年	33	8.0	12.2	9.1
Standard review	2022年	13	14.9	19.1	9.1
	2023年	22	12.0	28.9	58.4
欧州（EMA）					
Accelerated Assessment	2022年	5	8.3	8.1	0.9
	2023年	3	8.0	7.9	0.3
上記以外	2022年	46	14.3	14.3	5.3
	2023年	31	15.4	15.9	5.0

*日本の優先審査に、先駆け審査指定制度、希少疾病用医薬品を含む
注1：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

近年における国際共同治験の動向調査 —2023年までの動向とアジア地域について—

医薬産業政策研究所 主任研究員 東 宏
主任研究員 白石隆啓

要約

- 米国臨床試験登録サイト ClinicalTrials.gov を用い、国際共同治験の動向を調査した。
- 日本の国際共同治験の参加率は登録治験全体に対して堅調に上昇し、2023年は26.9%であった。
- 直近10年間でアジア主要地域が参加する国際共同治験の52.8%に日本は参加していた。
- 一方、主導する企業分類によって参加率は大きく相違し、製薬が主導しアジア主要地域が参加する国際共同治験では日本の参加率は62.2%に対し、EBP が主導した場合は24.6%であった。
- 他のアジア主要地域と比較し、EBP主導の国際共同治験に対する日本の参加率が相対的に低かった。

1. はじめに

近年、医薬品の開発は世界規模で行われることが多くなり、医薬品承認を目指した臨床試験も、単一国内ではなく国家間を跨いだ国際共同治験が台頭している。国際共同治験とは、新規の医薬品の世界的規模での開発及び承認を目指して企画される治験であって、一つの治験に複数の国の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づき、

同時並行的に進行する治験、とされ¹⁾、新たな治療選択を望む患者さんへ新薬をより早く届ける上で重要な役割を担っている。

これまで政策研ニュースにて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）²⁾ を用い、国際共同治験の状況や参加国の分析を報告している^{3、4、5、6)}。これは世界各国が独自の臨床試験登録サイトを持ち、その登録状況に差がある中で、世界的な医薬品開発状況を総合調査するために着目すべきひとつの代表データベースとして ClinicalTrials.gov が妥当と考えたからである。現状米国が世界で最も医薬品開発が活発な場であること、さらには ClinicalTrials.gov は米国のサイトでありながら、各社の情報発信目的など企業戦略の観点により米国が参加しない臨床試験情報も含まれていることなどから、世界的な状況の調査に適していると判断した。

他方、政策研ニュースにて、ドラッグ・ラグ/ロスの課題に関連して、国内未承認薬の増加に国際共同治験の参加国組入れの影響度が大きいことも報告している⁷⁾（抗悪性腫瘍剤におけるピボタル試験の日本組み入れ状況の分析）。従って、国際

- 1) 「国際共同治験に関する基本的考え方について」（平成19年9月28日付け薬食審査発第0928010号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）
- 2) ClinicalTrials.gov ウェブサイト、<https://www.clinicaltrials.gov/>
- 3) 医薬産業政策研究所、「国際共同治験の実施状況—実施試験数による分析—」政策研ニュース No.41（2014年3月）
- 4) 医薬産業政策研究所、「新薬の国際共同治験実施状況と症例数—新薬の臨床開発と承認審査期間調査より—」政策研ニュース No.48（2016年7月）
- 5) 医薬産業政策研究所、「近年の国際共同治験の参加国の分析—臨床試験登録システム ClinicalTrials.gov を基に—」政策研ニュース No.58（2019年11月）
- 6) 医薬産業政策研究所、「近年における国際共同治験の動向調査」政策研ニュース No.66（2022年7月）
- 7) 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か？」政策研ニュース No.66（2022年7月）

共同治験の動向を調査することは、日本における新規医薬品のアクセス向上を考える上で大変重要である。本稿では、前報の政策研ニュース No.66 (2022年7月)⁶⁾ との比較を中心に試験数や参加率などを多面的に調査し、後半ではアジア地域が参画する国際共同治験の動向と新興バイオ医薬品企業 (EBP: Emerging Biopharma) の関わり合いについても分析する。

2. 調査方法

調査方法は政策研ニュース No.66と同様の手法を取った。即ち、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)²⁾ を用い、同システム内で登録された Interventional Studies (Clinical Trials) のうち、PhaseがPhase 2 (1/2含む) またはPhase 3 (2/3含む) で、Funder Type に Industry を含む登録がされている試験を対象とし、試験数や参加率などを調査した (2024年7月1日時点)。また、実施国が1ヶ所のみ登録されている試験を単一国治験、2ヶ所以上登録されている試験を国際共同治験と定義した。さらに、本稿ではアジア主

要地域として国際共同治験の序列頻出国から、日本、韓国、中国、台湾、シンガポール、タイと定め、地域分類はClinicalTrials.govのLocation項通りとした。

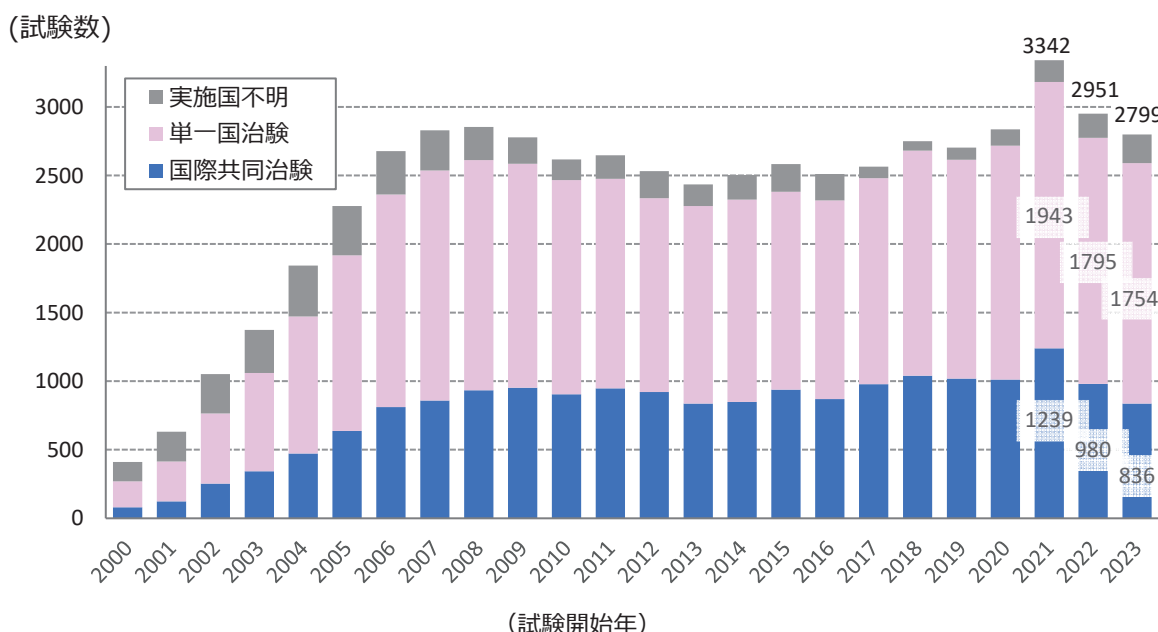
3. ClinicalTrials.gov 登録件数の推移

ClinicalTrials.gov に登録される臨床試験について、図1は試験開始年ごとの推移を2000年から2023年まで示している。2021年以降に着目すると、国際共同治験は1,239件、総数は3,342件をピークに減少している。ここで、各分類の数値において留意すべき事項があり、各試験において開始段階では単一国試験で進め、経時的に別国への治験登録が拡大するケースが存在する。従って各治験の登録内容が時期によって変化することが、データ取得日に近いほど多くなり、このことは前報で詳細に報告している⁶⁾。また総数においても確認時期によって若干の変動を確認している (前回2021年総数は3,364件、データ非開示)。

4. 国別の国際共同治験／単一国試験の実施数

2000年から2023年にわたる累積治験数を国別

図1 ClinicalTrials.gov 登録試験数推移



注1: 2021年から2023年の最上部の数値は不明を含む合計の治験数を表す

注2: 直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化する

出所: ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

毎、試験タイプ毎（国際共同治験、単一国治験及び試験総数）に分類し、上位30か国を表1に示す。各国の全体的な傾向は前報と同様であった。

前回順位との比較に注目すると、国際共同治験の上位に変動は少ない一方、日本は23位から19位タイに上昇し、集計国の中で最大のランクアップであった。本指標は20年以上の累積試験数であり、順位変動が起こりにくい点を考慮すると、前回からの2年間で4ランク上昇することは意義深い事象と捉えることが出来る。アジアの他地域に

目を配ると、韓国、台湾に次ぐ3番手であり、この点については次節から詳しく分析する。一方で順位が後退した上位国はベルギー、ロシア、オーストリア、スウェーデン、ウクライナ等であった。2022年2月以来のロシア・ウクライナ情勢による影響度は、単純に結び付けられないものの一定の影響はあったものと推察する。試験総数の順位では、日本は一つ順位を上げて13位となった。一番順位の変動があったのは中国（16位から11位）であり、これは単一国治験の大幅な進展があったた

表1 国別及び試験タイプ別 ClinicalTrials.gov 登録累積試験数（2000年～2023年）

Rank	国際共同治験		単一国治験		試験総数	
	国名	試験数	国名	試験数	国名	試験数
1	United States (1)	13576	United States (1)	16968	United States (1)	30544
2	Germany (2)	8500	China (2)	3167	Germany (2)	9779
3	Canada (3)	7769	<u>Japan (3)</u>	<u>1659</u>	Canada (3)	8720
4	Spain (4)	7708	Germany (4)	1279	Spain (6)	8212
5	United Kingdom (5)	7237	Korea, Republic of (5)	1085	United Kingdom (4)	8082
6	France (6)	7102	Canada (6)	951	France (5)	7990
7	Italy (7)	6443	France (7)	888	Italy (7)	6885
8	Poland (8)	6188	United Kingdom (8)	845	Poland (8)	6273
9	Australia (10)	5097	Spain (9)	504	Australia (10)	5458
10	Belgium (9)	5002	Italy (10)	442	Belgium (9)	5207
11	Netherlands (12)	4008	Brazil (11)	379	China (16)	4985
12	Hungary (13)	3892	Australia (14)	361	Korea, Republic of (12)	4754
13	Russian Federation (11)	3882	Netherlands (12)	345	<u>Japan (14)</u>	<u>4357</u>
14	Korea, Republic of (14)	3669	Israel (13)	326	Netherlands (13)	4353
15	Israel (15)	2892	Russian Federation (15)	295	Russian Federation (11)	4177
16	Taiwan (17)	2811	Taiwan (16)	274	Hungary (15)	3923
17	Czechia (18)	2804	India (17)	243	Israel (17)	3218
18	Argentina (19)	2729	Belgium (18)	205	Taiwan (18)	3085
19	<u>Japan (23)</u>	<u>2698</u>	Denmark (19)	200	Brazil (20)	2989
20	Austria* (16)	2698	Sweden (20)	178	Czechia (23)	2830
21	Mexico (21)	2632	Switzerland (21)	158	Austria (19)	2816
22	Brazil (22)	2610	Mexico (23)	120	Argentina (24)	2774
23	Sweden (20)	2523	Austria (22)	118	Mexico (22)	2752
24	Denmark (24)	2339	Finland (24)	88	Sweden (21)	2701
25	Romania (26)	2247	South Africa* (26)	88	Denmark (25)	2539
26	Bulgaria (27)	2167	Poland (25)	85	Romania (27)	2268
27	Ukraine (25)	2094	Indonesia (28)	83	Bulgaria (28)	2186
28	Turkey (30)	2043	Thailand (27)	80	South Africa (29)	2128
29	South Africa (28)	2040	Philippines (-)	65	Ukraine (26)	2116
30	Switzerland (29)	1871	Norway (29)	64	Turkey (-)	2103

注1：カッコ内数字は前回順位（2000～2021年）。ハイフンについては前回順位データなし。

注2：表中の*印にて、国際共同治験のオーストリアは19位タイ、単一国治験の南アフリカは24位タイ。

出所：ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

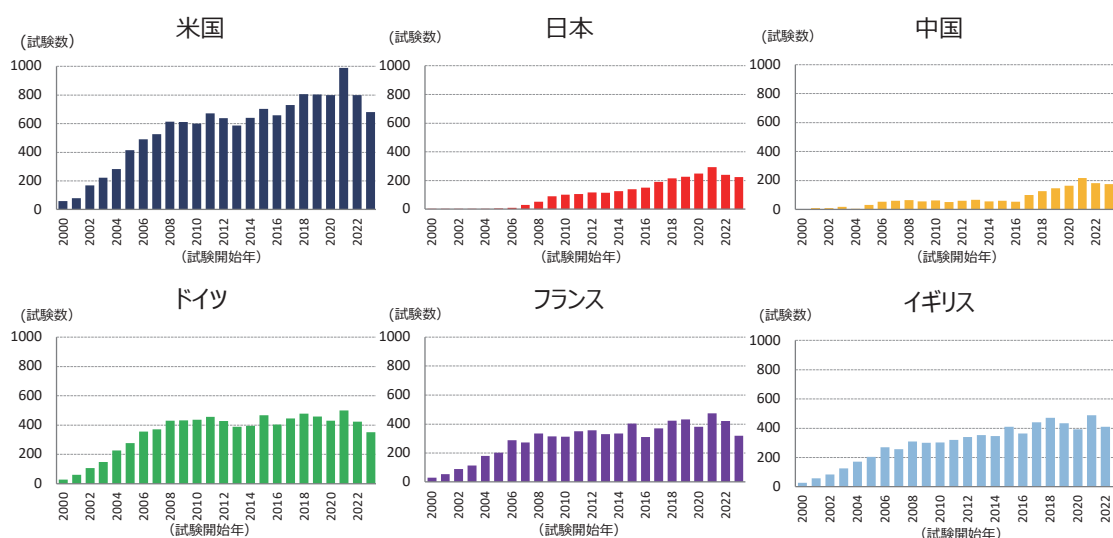
めと考察する。

続いて、図2にて主要国（米国・日本・中国・ドイツ・フランス・イギリス）毎の国際共同治験数の年次推移を、また図3にて当該年で実施された全国際共同治験に対する参加割合の年次推移を示す。

主要各国とも国際共同治験数の年次増減傾向は類似しているものの、全国際共同治験に対する参

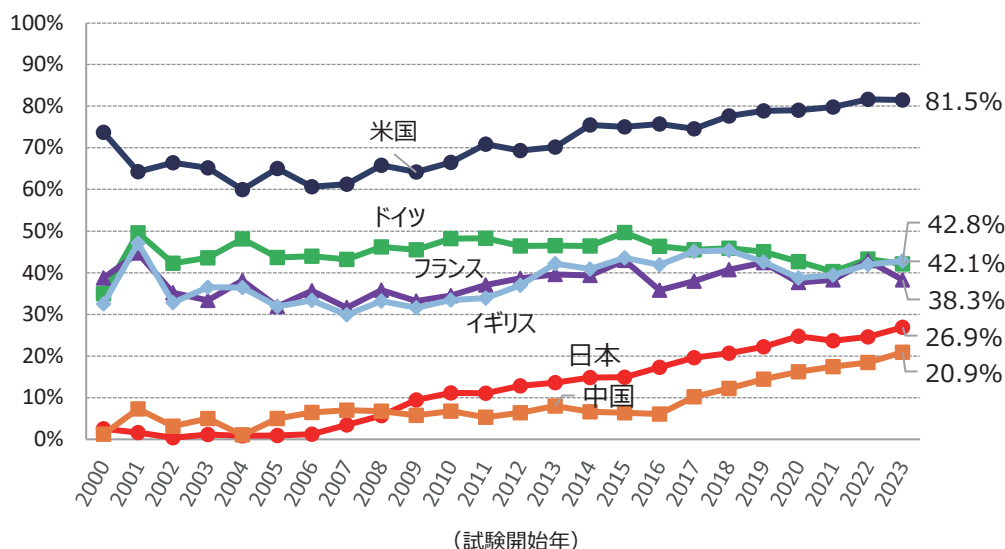
加割合でみると、米国は高い水準を保ち、欧州勢に変動があまり見られない中、アジア勢が堅調に上昇していることが分かる。2023年では日本が26.9%、中国が20.9%とそれぞれ過去最高値であり、欧州勢との差は徐々に縮小している。このことから国際共同治験に対するアジア地域の存在感が増してきていると考察する。

図2 主要国の国際共同治験数の年次推移



注：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる
出所：ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 主要国の国際共同治験に参加する割合の年次推移



注：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる
出所：ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

5. アジア主要地域の国際共同治験数

アジア地域は、一般に欧米から見ると地理的、文化的、言語学的な距離があり、国家内の民族も欧米に比べ多様性が少ないと言われている。また治験環境や承認申請制度の相違も存在し、米国が世界で主な医薬品開発の場となっている現状で、日本がこれらの克服すべき課題を乗り越え、より多くの国際共同治験へ参加することが、新たな医薬品へのアクセスを確保するために必要である。

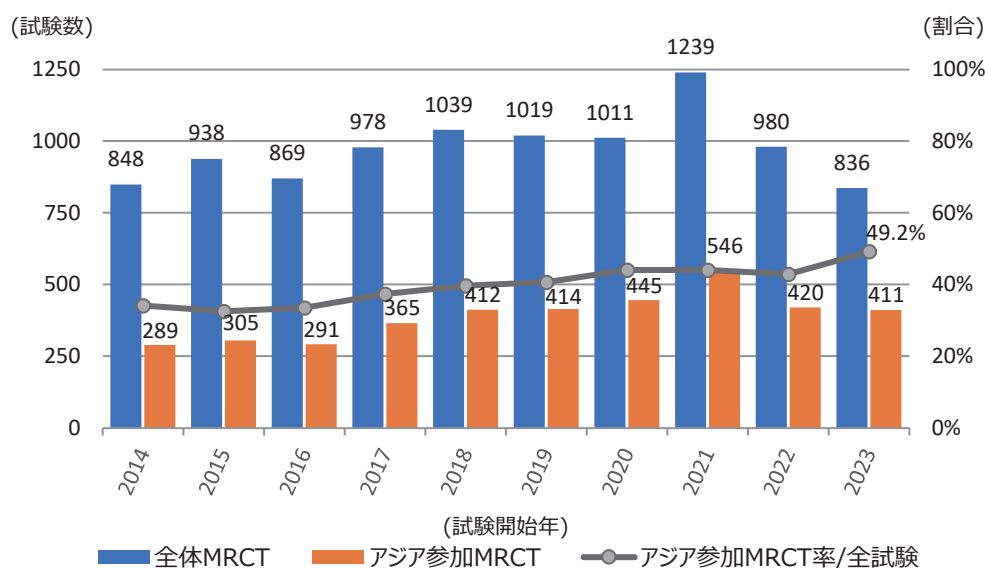
本節では米国臨床試験登録システムにおける国際共同治験の中で日本を含むアジア地域の関わりについて分析した。図4には、国際共同治験全体に対して、アジア主要6地域（日本、韓国、中国、台湾、シンガポール、タイ）が含まれる試験数とその割合を示す。なお、2000年代までは全体の登録試験数も低いこともあり、アジア地域の登録件数、登録率も低いことを確認している。直近の状況と適切に比較解析するにはサンプル数が少ないと判断したため、以降の分析では2014年から2023年の直近10年間のデータを示す。直近10年間では登録全体の国際共同治験に対し、アジア主要地域の何れかが参加する試験割合は緩やかに上昇基調と捉えることが出来る。2014年は289試験、2021年

は分析期間で最多の546件であった。2023年は49.2%とほぼ半数の治験に対しアジア主要地域が組み込まれており、前節図3の結果と同様に、アジア地域のプレゼンスが高まっていることが分かった。

次に地域別で分けた国際共同治験数（図5）と、当該年で実施された全国国際共同治験に対する参加割合（図6）の年次推移を示す。第4節の表1にてアジア地域に絞った2000年以降の国際共同治験の参加件数に着目するとトップは韓国の3,669件、次いで台湾の2,811件、日本の2,698件であった。地域別の国際共同治験参加率を経年変化で見ると、直近10年間で韓国はアジア地域で一番国際共同治験に参加している国であり、2023年では全体の30.7%に参加している。台湾は緩やかに上昇してきており、2023年は全体の21.5%の参加率であった。日本は2016年に台湾と入れ替わりでアジア地域2番手となり、2023年には全体の26.9%であった。さらに近年は、中国も参加率が上昇しており、2023年には全体の20.9%と台湾に迫る勢いを見せている。

次にアジア主要地域の中で日本の参加状況を調査した。即ち、アジア地域を視野に入れている国

図4 アジア主要地域が含まれる国際共同治験数と割合



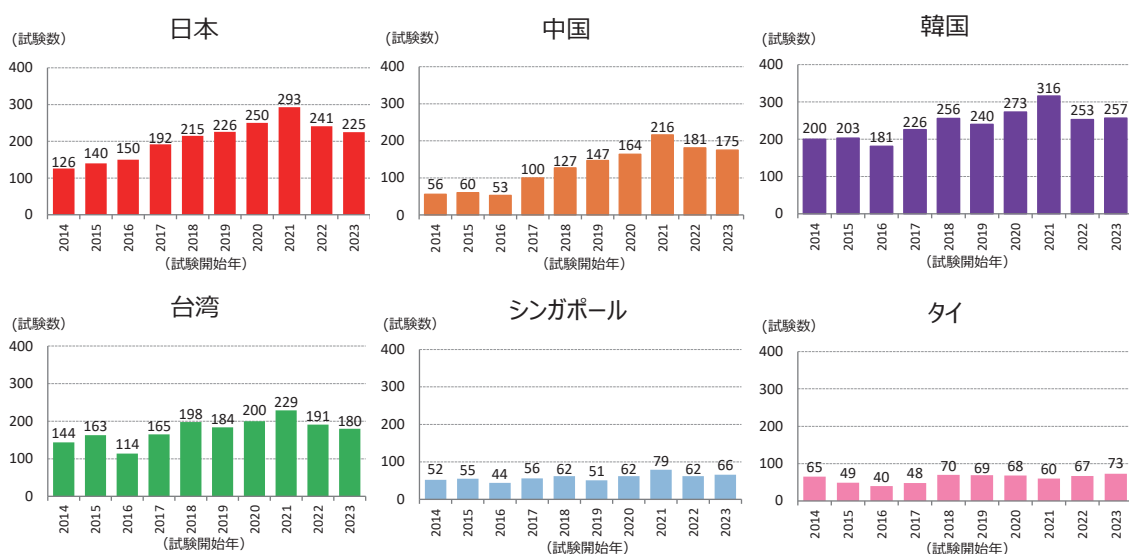
注1：MRCTとはMulti-Regional Clinical Trialの略であり、国際共同治験を表す

注2：アジア参加とは、主要地域である日本、韓国、中国、台湾、シンガポール、タイの何れかの参加を示す。

注3：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化する

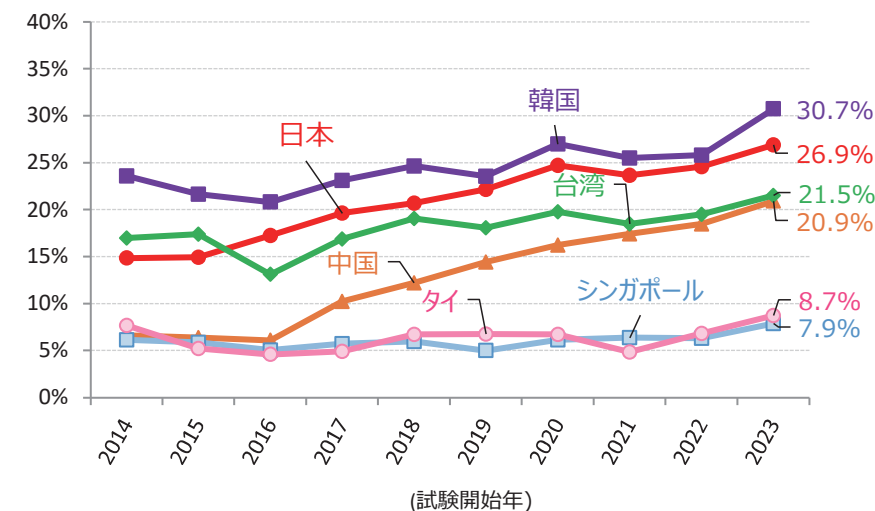
出所：ClinicalTrials.govをもとに医薬産業政策研究所にて作成

図5 アジア主要地域が含まれる国際共同治験数の年次推移（地域別）



注：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる
 出所：ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図6 アジア主要地域が含まれる国際共同治験数の全登録国際共同治験に対する割合の年次推移（MRCT参加率）



注：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる
 出所：ClinicalTrials.gov をもとに医薬産業政策研究所にて作成

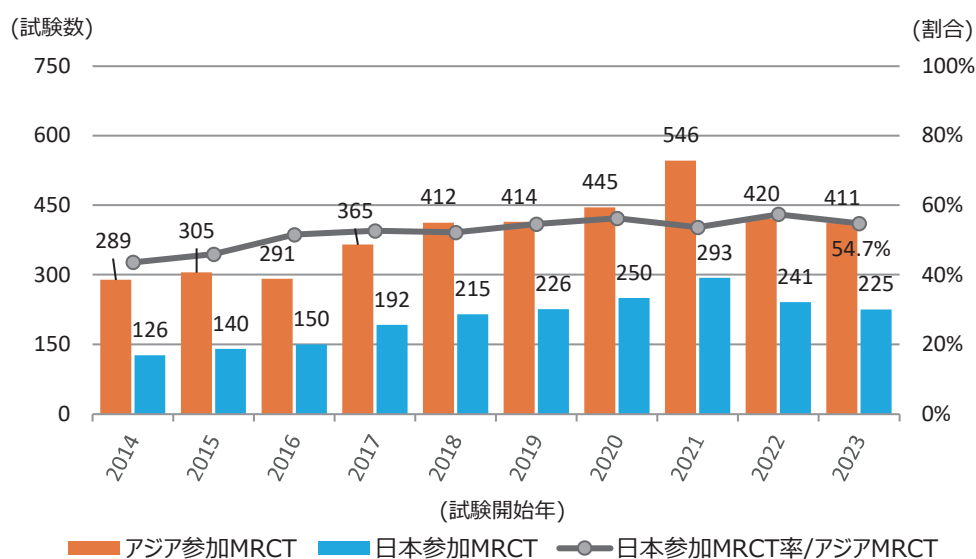
際共同治験の中で日本がどの程度の参加率なのか、分析を行った。（図7）結果、直近10年間で緩やかな増加傾向を続けており、2016年に50.5%（291件中150件）と半数を超え、2023年には54.7%（411件中225件）となっている。よって近年では、ClinicalTrials.gov に登録される国際共同治験において、アジア主要地域も対象に含まれる試験のう

ち半数以上には日本が参加していることがわかった。

6. EBP のアジア主要地域の国際共同治験数

近年、世界の医薬品開発において、新興バイオ医薬品企業（Emerging Biopharma：以下、EBP）の台頭が目覚ましいことは各方面で報告されてい

図7 アジア主要地域が参加する国際共同治験に対する日本の参加試験数と参加割合



注1：MRCTとはMulti-Regional Clinical Trialの略であり、国際共同治験を表す

注2：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる

出所：ClinicalTrials.govをもとに医薬産業政策研究所にて作成

表2 Lead Sponsor別 国際共同治験数（アジア参加限定、2014ー2023合算）

(団体数)	製薬	EBP	非企業	不明	総計
日本参加	171	445	25	29	2058
日本非参加	1830	214	12	2	2058
アジア参加	1113	657	34	36	1840
MRCT合計	2943	871	46	38	3898

注1：EBPとはEmerging Biopharma（新興バイオ医薬品企業）を示し、1990年以降の設立かつ試験開始年の前年売上げが5億ドル未満の企業を指し、製薬とはEBP以外の製薬企業を指す

注2：非企業には、大学、病院、NIH（米国国立衛生研究所）、政府系研究所などが含まれる

注3：不明には、設立年および売上データ不足によりEBP該非が判別不能な企業が含まれる

注4：MRCTとはMulti-Regional Clinical Trialの略であり、国際共同治験を表す

出所：ClinicalTrials.gov、Evaluate Pharma[®]（2024年9月時点）および各社web等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

る^{8、9)}。本稿ではEBPを、1990年以降の設立、かつ試験開始年の前年売上げが5億ドル未満の企業と定義し、大手を含む製薬企業を主な比較対象とすることでEBPが主導する国際共同治験の特徴を調査した。前述の通り、ドラッグ・ラグ/ロスの課題克服において、EBPが日本で医薬品開発する際の開発障壁を小さくすることは重要である。その一例として、日本開発のために追加で試験を実施する状況を避けるべくEBP主導の国際共同治

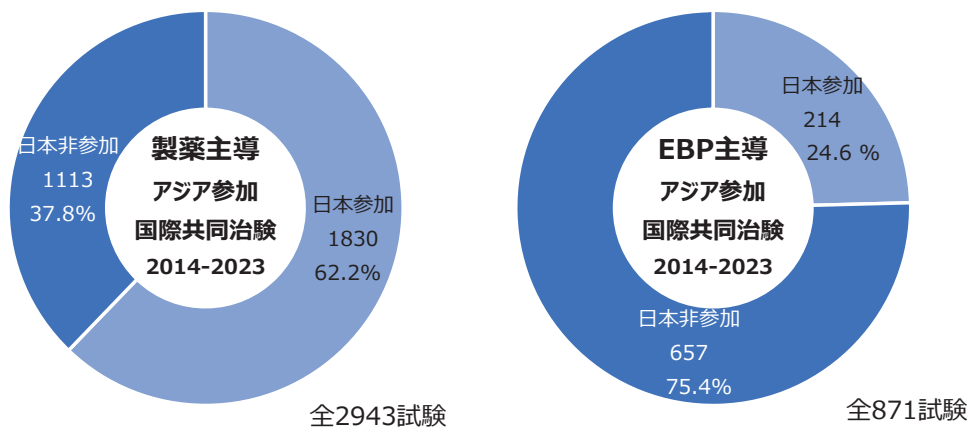
験に先手で日本が参画することは実効性のある方策と考える。なお、本稿の調査におけるEBPは国籍を問わず、米国、欧州、アジア含む全世界の企業である。

表2と図8ではアジア主要6地域が参画する国際共同治験について、ClinicalTrials.govのLead Sponsorに登録されている団体ごとに日本の参加状況を試験数で分類した。結果、直近10年間のアジア主要地域が参加する国際共同治験は、図4及

8) IQVIA Institute report “Emerging Biopharma’s Contribution to Innovation” <https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/emerging-biopharma-contribution-to-innovation>

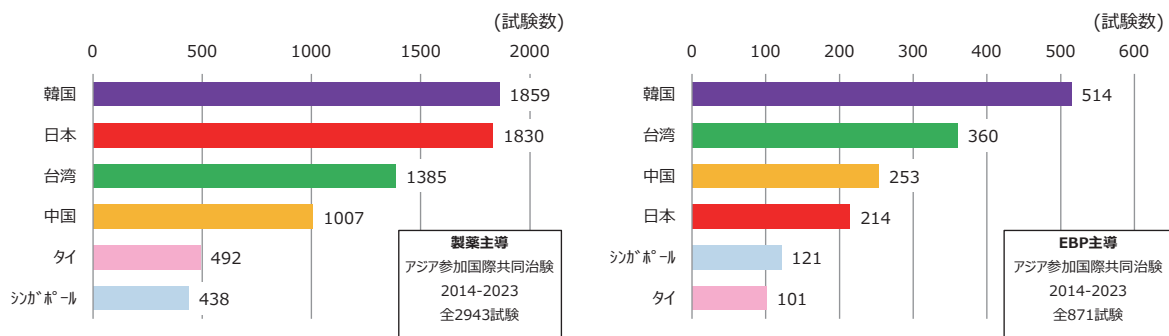
9) 国立研究開発法人科学技術振興機構 研究開発戦略センター「イノベーションエコシステム調査 創業のオープンイノベーションの潮流」<https://www.jst.go.jp/crds/report/CRDS-FY2023-RR-05.html>

図8 Lead Sponsor 別 国際共同治験数（アジア参加限定、2014－2023合算）



注1：EBPとはEmerging Biopharma（新興バイオ医薬品企業）を示し、1990年以降の設立かつ試験開始年の前年売り上げが5億ドル未満の企業を指し、製薬とはEBP以外の製薬企業を指す
 出所：ClinicalTrials.gov、Evaluate Pharma[®]（2024年9月時点）、各社web等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図9a、9b 地域別、アジアが参加する国際共同治験に対する日本の参加試験
 （主導企業分類別 a：製薬、b：EBP）



注：EBPとはEmerging BioPharma（新興バイオ企業）を示し、1990年以降の設立かつ試験開始年の前年売り上げが5億ドル未満の企業を指す
 出所：ClinicalTrials.gov、Evaluate Pharma[®]（2024年9月時点）、各社web等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

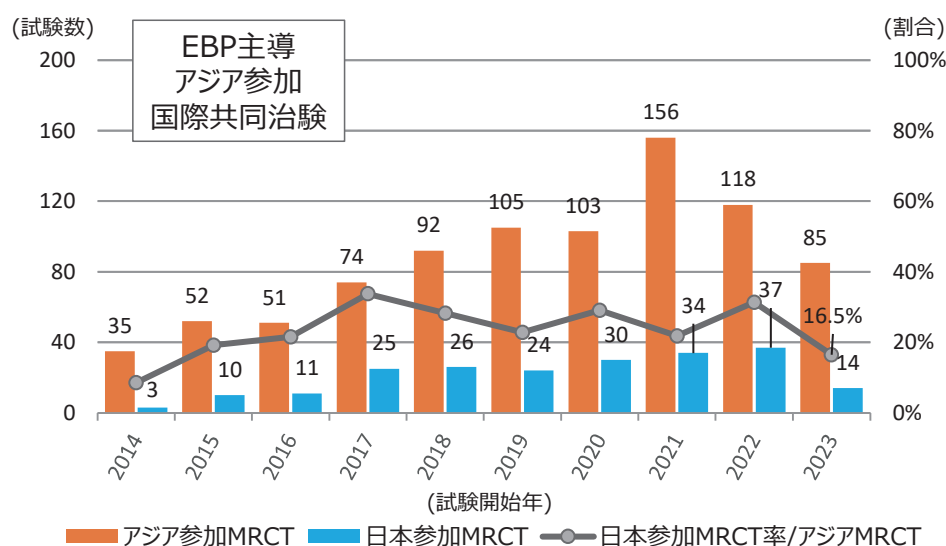
び図7の橙色で示す全3,898試験であり、うち2,058試験（52.8%）に日本は参加していた。また主導企業分類別にみると、製薬企業（171団体）が主導する国際共同治験に、日本は全2,943試験中で1,830試験（62.2%）に参加していた。他方、EBP（445団体）が主導する国際共同治験に、日本は全871試験中で214件（24.6%）に参加しており、双方の間に大きな相違を確認した。

次に、アジア内の他地域参加状況を併せて検討した。図9aおよび図9bではアジア主要6地域別における、アジアが参加する国際共同治験への参加件数を主導企業別に分けて示す。直近10年間で製薬主導のアジア参加国際共同治験では、韓国が最も多く全2,943試験中で1,859試験（63.2%）で

あり、日本は次点の1,830試験（62.2%）の参加であった。さらには台湾の1,385試験（47.1%）、中国の1,007試験（34.2%）と続いていた。他方、EBP主導のアジア参加国際共同治験では、韓国の最多参加は変わらず全871試験中で514試験（59.0%）であった。続いて台湾の360試験（41.3%）、中国の253試験（29.0%）であり、日本は4番手の214試験（24.6%）であった。これらより、アジアが参加する国際共同治験で最も多くの試験に参加していたのは韓国であった。翻って日本に着目すると、製薬主導の試験では韓国とほぼ同数であったが、EBP主導の試験では数にして2.4倍の相違があり、大きく引き離されていた。

さらに、経年変化を調査すべく、図10では年次

図10 EBP 主導試験限定、アジア地域が参加する国際共同治験に対する日本の参加試験数と参加割合



注1：MRCTとはMulti-Regional Clinical Trialの略であり、国際共同治験を表す

注2：EBPとはEmerging BioPharma（新興バイオ企業）を示し、1990年以降の設立かつ試験開始年の前年売り上げが5億ドル未満の企業を指す

注3：直近のデータは登録情報が随時更新されることも多く、各数値は今後大きく変化しうる

出所：ClinicalTrials.gov、Evaluate Pharma[®]（2024年9月時点）、各社web等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

推移として参加試験数と参加率を示す。結果、2014年では3試験であったものが、徐々に増加し、2022年に最多37試験となった。ただし、アジア他地域の何れかが参加する全試験との割合でみると、2017年の33.8%（74件中25件）を境に、近年は停滞気味と捉えることができ、20%から30%台に留まっている。

7. 考察

本節では第6節で述べたアジア主要地域におけるEBP主導の国際共同治験に対する日本の参加状況について焦点を絞って考察する。得られた結果より、主導する団体の違いによって日本の参加件数と参加率が大きく相違し、EBPが主導するアジア地域を視野に入れた国際共同治験では、残念ながら日本の参加率は他地域に先んじられる状況が明らかとなった。この背景については様々な要因が存在すると考える。例えば韓国では国の政策と

して治験環境の拠点整備に取り組んできており、2004年から5年間で46億円を投じ、15か所のClinical Trial Centerを設立してきた¹⁰⁾。また、治験届から試験開始までのスピードも各種手続きを同時並行して行い期間短縮につながっていると推察する。日本の参加率が比較的低い事象について、上述する欧米からの地理、文化、言語、民族構成の相違といった事由では単純には説明がつかないものと考察する。EBPはその企業特性上、会社規模が小さく売上げがまだ少額であり、コンパクトな治験で迅速な治験結果を訴求し、治験実施にスピードやコストなどを重視することが想定される。日本における治験環境、臨床開発モニター（CRA）との面談頻度、対象患者の集約度、治験審査委員会の開催頻度や中央化、臨床治験実施医師のマンパワーなど、様々な側面や基準で是々非々の議論が沸き起こっている状況である^{11)、12)}。また薬事審査面でも海外先行医薬品の国際共同治

10) 飯島肇、大橋京一「韓国アカデミアにおけるClinical Trial Centerについて」臨床薬理、2007、38(2)、73-75

11) 「治験の更なる効率化（エコシステム）について」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、<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001230278.pdf>

12) 「我が国の創薬力向上に向けての課題と対策」第2回創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議、<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/dai2/siryoku3.pdf>

験開始前の日本人での第Ⅰ相試験の実施に関する基本的考え方について課長通知¹³⁾などが発出されており、日本にとって一番良い形を国全体が模索している段階と捉えられる。

8. おわりに

本稿では国際共同治験及び単一国治験の動向をClinicalTrials.govの登録状況を基に報告した。近年における日本の国際共同治験参加状況は、登録治験全体に対して参加率は上昇していた。他方、

製薬企業主導の国際共同治験への参加率においてアジア主要地域では日本は最上位国の一つだが、EBP企業主導の国際共同治験への参加率は最上位国の半分未満の水準であり、特にEBP主導の国際共同治験に対しては参加向上の方策が必要と考える。そして今まさに様々な議論が各方面で活性化しており、産官学一体で実効性のある解決策を見出し、新たな医薬品や新たな治療オプションが必要とする患者さんにいち早く届くことを願って止まない。

13) 「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験の実施に関する基本的考え方について」（令和5年12月25日付け医薬薬審発1225第2号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）

NDB オープンデータから見たがん医療技術の推移

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治

要約

- NDB オープンデータをはじめとした公的オープンデータを用いて、2015～2022年の各年度（データによっては暦年）のがん死亡率と、がん診断、がん治療の医療技術を集計し、変化の推移を追った。
- 各データを、「小児」、「AYA」、「成人」、「高齢者」の4群に分け男女別に集計し年度推移を分析した。各データの経年変化は、5年移動の年平均変化率（APC）の平均値で確認した。
- がん死亡率推移の分析から、①男女ともに多くの群でがん死亡率の減少が認められた ②血液がんでは男女とも高齢者群の死亡率が増加していた ③固形がんでは女兒の死亡率が増加していた 等が示された。
- がん医療技術推移の分析から、①小児群では他年齢群に比して新規腫瘍用薬、バイオ腫瘍用薬の使用割合は顕著に低かった ②すべての年齢群で、遺伝子検査の割合、腫瘍用薬投与用のカテーテル設置術の割合は増加傾向であった ③高齢者群で造血幹細胞移植が増加していた 等が示された。
- 医療技術は加速度的に進歩し、治療の選択肢は増加しているが、解決すべき医療課題は未だ多く残っている。医療技術のイノベーションと患者アクセスの持続のためには、産み出された医療技術の効果と効率性をビッグデータから後方視的、俯瞰的、継続的に分析し評価する仕組みが喫緊に必要と考える。

1. はじめに

医療技術は日進月歩で進化し、そのスピードは年々加速している。医薬品では新規の責任分子、遺伝子異常の発見に応じて、責任分子に特異的に作用するようにデザインされたモダリティ開発に拍車がかかっている。手術ではロボット支援下手術が導入されたことで身体への低侵襲化が更に拡がり、放射線治療では健常細胞への影響を最小限にし、効率的にがん細胞を死滅させる重粒子線治療や陽子線治療が開発された。検査では保険適用が認められる遺伝子検査が増加し、特に悪性腫瘍の診断においては、個別の遺伝子変異をみて腫瘍用薬の選択指標とするコンパニオン診断から、がんゲノムプロファイリング検査といった網羅的な遺伝子変異の探索によって最適な治療方針を導く技術に進化している。

このような医療技術の進歩は患者に福音をもたらす一方、革新的イノベーションを臨床医療に実装するには、開発コストの増大は蓋然であり、今般の医療費増大の議論に繋がっている。新規医療技術は臨床試験で生存や進行抑制、QOL改善等のアウトカムを証明し厚生労働省に承認され、各領域の学会で審議されることで標準治療としての普遍性を獲得していくケースが大半だが、医療費増大が議論される現在だからこそ、開発された多様な医療技術が臨床現場で普及したことで患者アウトカムの改善に繋がっているか、患者の生活の質向上、医療の効率化、社会の持続性に貢献できているか、蓄積した医療データを用いることで後方視的、俯瞰的、継続的な分析と評価の仕組みを構築する必要があると考える。

今回の調査では、患者アウトカムと医療技術の経年的推移について、公的機関のホームページから入手できる各種オープンデータを用いた。これらオープンデータの情報だけでは当然、患者アウトカムと各種の医療技術の質、量との関係を統計的に分析することは不可能だが、一定期間における各医療技術と患者アウトカムの推移との関係について輪郭を示すことは可能と考えた。

対象とした疾病は悪性腫瘍性疾患（がん）の領域を設定した。がん領域は腫瘍用薬の使用量、がん医療技術レセプト、がん検査レセプトをNDBオープンデータから定量的に集計することが可能であり、患者アウトカムはがん死亡率から定量的に集計できるため、他疾患領域よりもオープンデータが充実していることから判断した。

がんの疫学は公益財団法人がん研究振興財団が「がんの統計」として多くのデータを毎年公表している¹⁾。「がんの統計」や国立がん研究センターが公表している「最新がん統計」²⁾はがん患者の予後に関するデータが充実する貴重なデータ・プラットフォームである。当調査では国立がん研究センターがん情報サービスのプラットフォームから「がん罹患率」と「がん死亡率」を、厚生労働省NDBオープンデータ³⁾からは腫瘍用薬の処方量と各種がん医療技術のレセプト数を、データ年（度）毎に、0-14歳の「小児」、15-39歳の「AYA」（Adolescent & Young Adult：思春期・若年成人）、40-64歳の「成人」、65-89歳の「高齢者」の4群

に集計しなおし、男女別にその推移を分析した。

2. 調査方法

「全国がん罹患データ」⁴⁾から2016～2020年のがん罹患率を、国立がん研究センターホームページのオープンデータ「新基準人口：全国がん死亡データ」⁵⁾から2015～2022年のがん死亡率を、先述した年齢4群を男女に分け、上皮内がんを除く全部位がん、血液がん、固形がんの3分類で集計した。血液がんは元のデータで集計されている“悪性リンパ腫”、“多発性骨髄腫”、“白血病”とし、固形がんは“口腔・咽頭”、“食道”、“胃”、“大腸”、“肝臓”、“胆嚢・胆管”、“膵臓”、“喉頭”、“肺”、“皮膚”、“前立腺”、“膀胱”、“腎・尿路（膀胱除く）”、“子宮”、“乳房”、“卵巣”、“脳・中枢神経系”、“甲状腺”とした。

がん診療に用いられる医療技術は、NDBオープンデータ第2回（2015年度）～第9回（2022年度）を用い、先述の年齢4群を男女別に集計した。処方薬数量の集計は、「内服_外来（院外）_性年齢別薬効分類別数量」、「内服_外来（院内）_性年齢別薬効分類別数量」、「入院_性年齢別薬効分類別数量」、「注射_性年齢別薬効分類別数量」から“腫瘍用薬”の処方単位数を集計した。また、がん緩和療法、がん支持療法として、がん性疼痛に適応のある内服と外用剤の“あへんアルカロイド系麻薬”、“合成麻薬”と“G-CSF製剤”を同様に集計した。

1) 公益財団法人がん研究振興財団、「がんの統計2024」

https://www.fpcr.or.jp/data_files/view/273/#toolbar=0&navpanes=0

2) 国立研究開発法人 国立がん研究センターホームページ、「最新がん統計」

https://ganjoho.jp/reg_stat/statistics/stat/summary.html

3) 厚生労働省ホームページ、「【NDB】NDB オープンデータ」

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000177182.html>

注) NDB オープンデータでは男女別、5歳毎にグループ化されており、各グループの処方薬数量の集計結果が1000未満の場合は「一」で表示（1000未満の箇所が1箇所の場合は1000以上の最小値を全て「一」で表示）、各グループのレセプト数量の集計結果が10未満の場合は「一」で表示（10未満の箇所が1箇所の場合は10以上の最小値を全て「一」で表示）となっているため、年齢群の集計結果と総計とは一致しない。

また、第8回までのNDBオープンデータでは、処方薬は薬効分類別に処方数の上位100品目が記載されていたことにに対し、第9回では上位100品目・上位300品目・上位500品目が公表された。しかし第9回における腫瘍用薬、麻薬の各薬効分類と、G-GCFの薬効分類である「その他の血液・体液用」は100品目以内となっていたため、第8回までと同条件と判断し第9回を分析に加えた。

4) 国立がん研究センターがん情報サービス、「がん統計」（全国がん登録）

https://ganjoho.jp/reg_stat/statistics/data/dl/index.html#a7

5) 国立がん研究センターがん情報サービス、「がん統計」（厚生労働省人口動態統計）、新基準人口：全国がん死亡データ（1979年～2022年） https://ganjoho.jp/reg_stat/statistics/data/dl/index.html#a7

医科診療行為レセプト数の集計は、「D検査_性年齢別算定回数」から、「悪性腫瘍組織検査」、「腫瘍マーカー」に分類されている検査に加えて、「造血器腫瘍細胞抗原検査」、「造血器腫瘍遺伝子検査」、「Major BCR-ABL1」、「免疫関連遺伝子再構成」、「UDP グルクロン酸転移酵素遺伝子多型」、「サイトケラチン 19 mRNA」、「WT1 mRNA」、「CCR4タンパク」、「FIP1L1-PDGFR α 融合遺伝子検査」、「EGFR遺伝子検査（血漿）」、「骨髄微小残存病変量測定」、「FLT3遺伝子検査」、「膀胱がん関連遺伝子検査」、「JAK2遺伝子検査」、「BRCA1/2 遺伝子検査」、「がんゲノムプロファイリング検査」、「RAS 遺伝子検査（血漿）」、「遺伝子相同組換え修復欠損検査」、「肺癌関連遺伝子多項目同時検査」、「悪性腫瘍遺伝子検査（血液・血漿）」の外来および入院レセプト数を集計した。「K手術_性年齢別算定回数」からは「悪性腫瘍」の表記が含まれた外来および入院手術のレセプト数を集計した。「M放射線治療_性年齢別算定回数」からは、「管理料」、「血液照射」を除き外来および入院レセプト数を算出した。「造血幹細胞移植」の件数については後述する。

「造血幹細胞移植」以外のデータは経時的な変化を確認するために、2016～2020年のがん罹患率はこの5年の年平均変化率（annual percent change：以下、APC）を引用資料⁶⁾の記載方法に従って算出した。その他、2015～2022年の8年を抽出したデータは、5年移動でAPCを算出しそれらの平均を算出することで平準化した（以下、5年移動APC平均）。

3. 結果

(1) 各年齢群のがん罹患率・死亡率の推移

最初に、全部位がんとそれを血液がんと固形がんに分けて算出した各年齢群の男女別のがん罹患率、がん死亡率の推移を示す。図1は全国がん登録データを用いて算出した2016～2020年の5年間

の人口10万人あたりの罹患率の推移である。全国がん登録データは2024年6月現在、2016～2020年が公表されており、2015～2022年を抽出したがん死亡率、各NDBデータとは期間が異なる。当期間のがん罹患率のAPCを示すと、男性の全部位がんでは0～14歳群（以下、小児群）▲0.8%、15～39歳群（以下、AYA群）▲1.5%、40～64歳群（以下、成人群）▲3.8%、65～89歳群（以下、高齢者群）▲1.4%と、いずれの年齢群も負の変化率を示していた。血液がんでは、小児群▲0.4%、AYA群▲0.1%、成人群▲0.9%、高齢者群0.8%であった。固形がんでは小児群▲3.1%、AYA群▲2.6%、成人群▲4.4%、高齢者群▲1.7%であり、男性ではいずれの年齢群でも血液がんより固形がんに大きい年減少率が示された。

女性の全部位がん罹患率のAPCは小児群1.3%、AYA群▲2.1%、成人群▲1.7%、高齢者群▲0.9%と、小児群のみが正の変化を示した。血液がんでは、小児群1.4%、AYA群0.4%、成人群▲1.9%、高齢者群1.1%であった。固形がんでは、小児群2.5%、AYA群▲2.6%、成人群▲1.9%、高齢者群▲1.3%であった。女性の罹患率APCの特徴として、血液がんでは成人群のみが減少、固形がんでは小児群のみに増加が認められた。

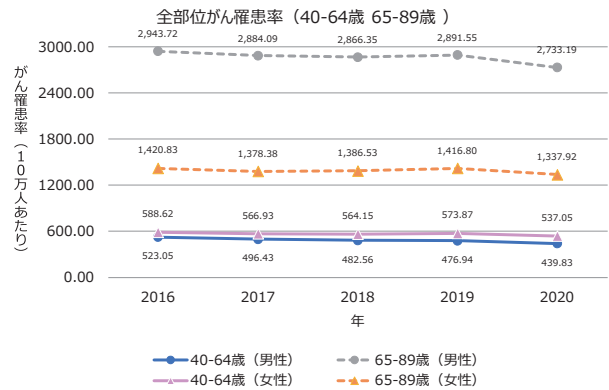
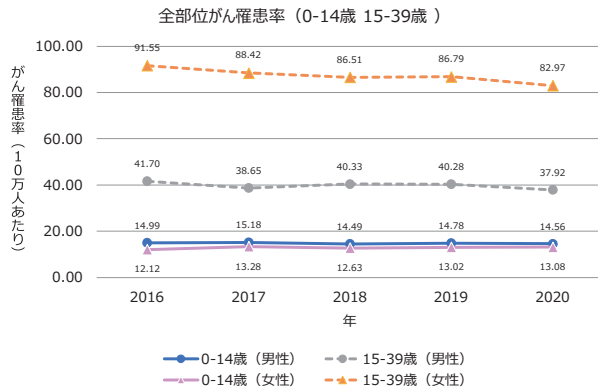
次に、2015～2022年の8年間における各年齢群の男女別、がん種別（がん全部位、血液がん、固形がん）でみた人口10万人あたりのがん死亡率を示す（図2）。8年間のがん死亡率の5年移動APC平均を算出すると、男性では、がん全部位において小児群▲2.0%、AYA群▲2.6%、成人群▲4.3%、高齢者群▲0.4%であった。血液がんでは、小児群▲3.8%、AYA群▲3.9%、成人群▲3.7%、高齢者群1.2%であった。固形がんでは、小児群▲3.4%、AYA群▲2.6%、成人群▲4.4%、高齢者群▲0.5%であった。男性では高齢者以外の群で、固形がん、血液がんともに死亡率の減少が認められた。

女性のがん死亡率の5年移動APC平均は、全

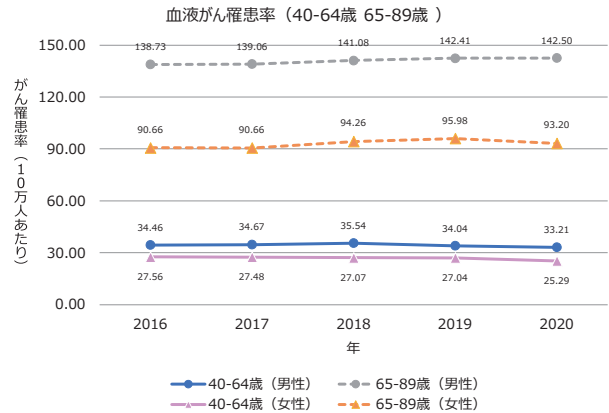
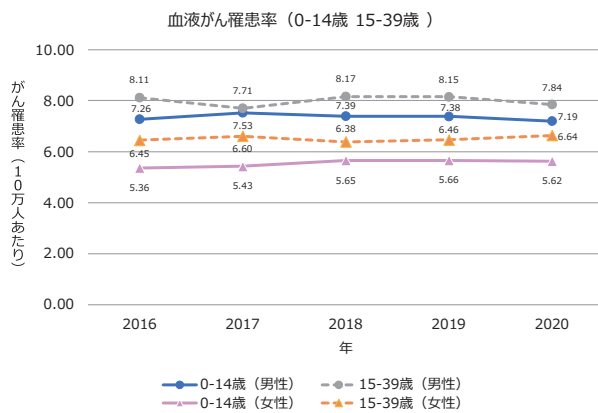
6) 厚生労働科学研究費補助金（がん臨床研究事業）、「既存統計資料に基づくがん対策進捗の評価手法に関する実証的研究」班、「がん死亡率減少へのアクションプラン作成の手引き」（2012年）
<https://oici.jp/ocr/common/images/data/data/1207tebiki2.pdf>

図1 各年齢群におけるがん罹患率（人口10万人あたり）

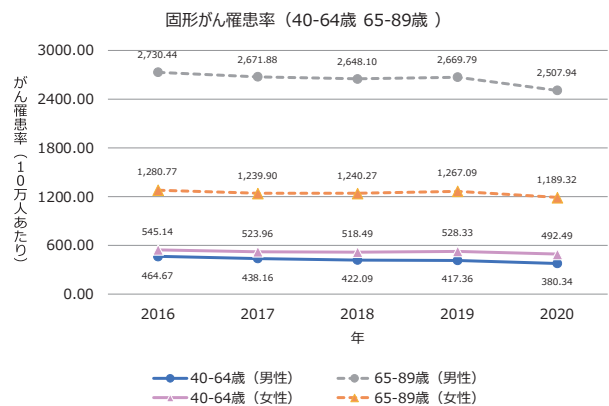
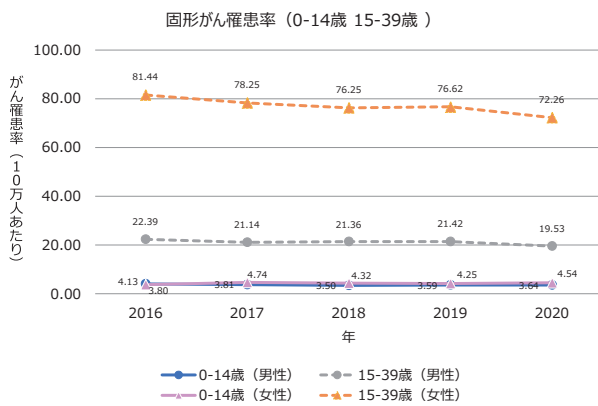
（全部位がん）



（血液がん）



（固形がん）



出典：国立がん研究センターがん情報サービス「がん統計」（全国がん登録）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

部位で小児群▲0.9%、AYA群▲3.2%、成人群▲1.5%、高齢者群0.1%であった。血液がんでは、小児群▲6.6%、AYA群▲5.7%、成人群▲3.5%、高齢者群1.0%であった。固形がんでは、小児群2.2%、AYA群▲3.1%、成人群▲1.6%、高齢者群0.0%であった。

表1に示すよう、当期間においては、男女とも

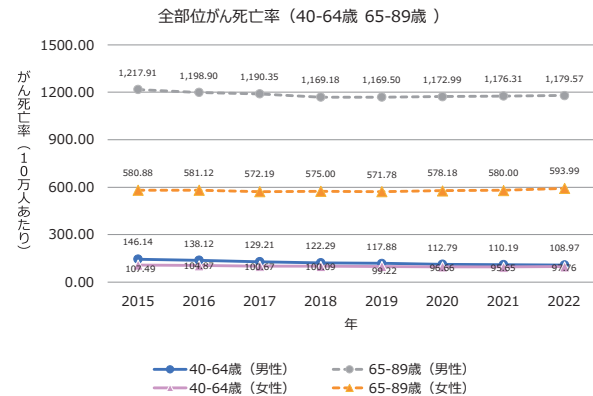
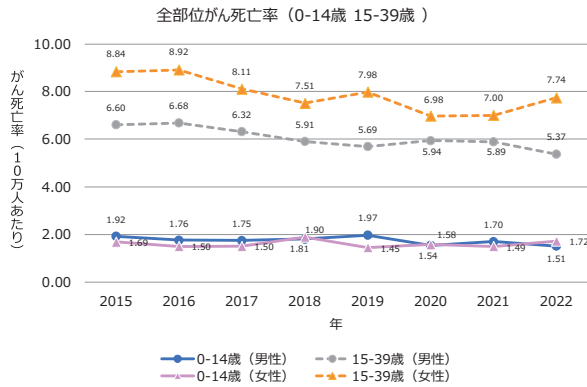
に多くの群でがん死亡率の減少が認められたが、女子の固形がんの死亡率の増加が注目された。

（2）腫瘍用薬量の推移

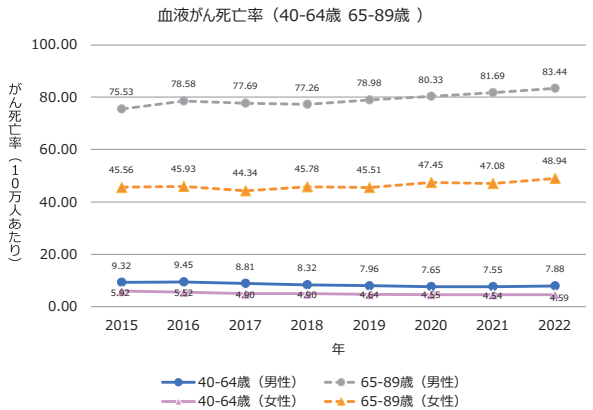
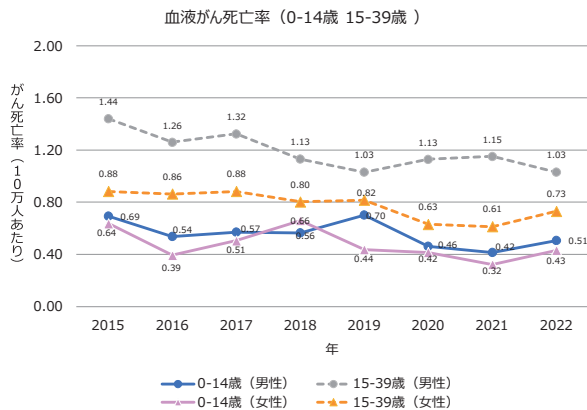
図3に、処方された内服および注射の腫瘍用薬単位数の推移を示す。グラフにある「新薬割合」は、各年度の総腫瘍用薬単位数を分母とし、2010

図2 各年齢群におけるがん死亡率（人口10万人あたり）

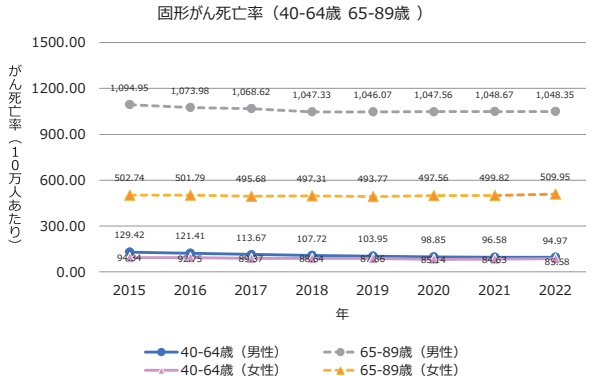
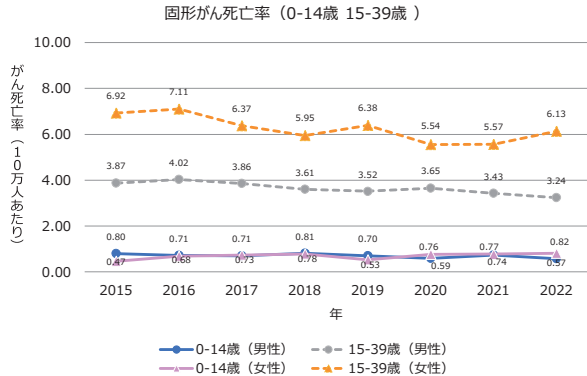
（全部位がん）



（血液がん）



（固形がん）



出典：国立がん研究センターがん情報サービス「がん統計」（厚生労働省人口動態統計）「新基準人口：全国がん死亡データ（1979年～2022年）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

年以降に発売となった“新有効成分含有医薬品（new molecular entities：NMEs）”の単位数の割合を表す。「バイオ割合」は、各年度の注射用腫瘍用薬単位数に対するバイオ腫瘍用薬単位数の割合を表す。なお、バイオ腫瘍用薬は遺伝子組換え型のタンパク、抗体、抗体薬物複合体（antibody-drug conjugates：ADC）を示し、バイオシミラーも含

む。

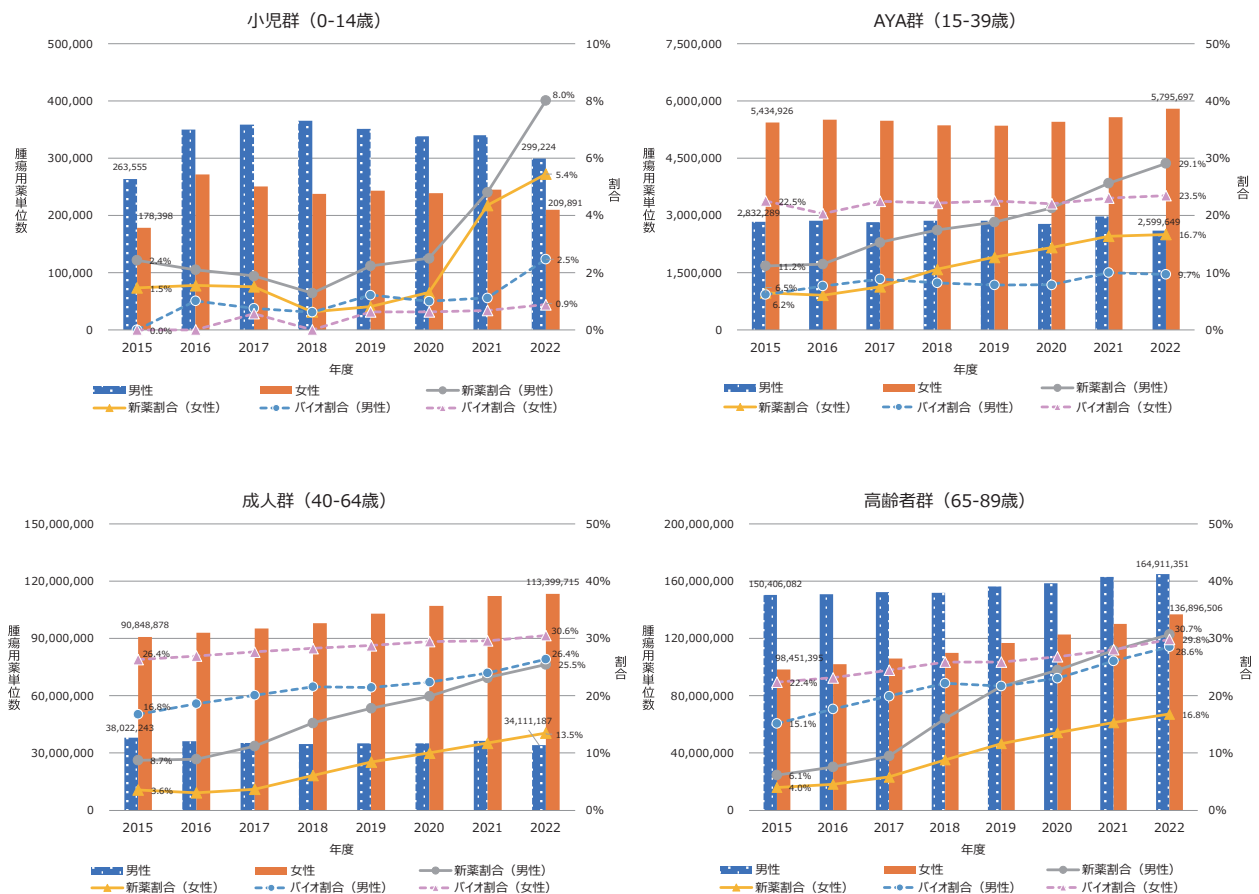
小児群では、2015～2022年度の腫瘍用薬総単位数の5年移動APC平均は男児▲0.2%、女児▲0.2%であった。2020年度までは腫瘍用薬全体の2%前後であった新薬の割合は、2021年度に男女ともに急増し、5年移動APC平均は男児20.9%、女児21.7%を示した。また、2022年度のバイオ腫瘍用

表1 各年齢群がん死亡率（人口10万人あたり）の年平均変化率（APC）

	男性				女性			
全部位	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳
5年移動 APC(%)平均	▲2.0	▲2.6	▲4.3	▲0.4	▲0.9	▲3.2	▲1.5	0.1
(参考)2015年～2022年 APC(%)	▲2.5	▲2.7	▲4.2	▲0.4	0.0	▲3.0	▲1.5	0.2
血液がん	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳
5年移動 APC(%)平均	▲3.8	▲3.9	▲3.7	1.2	▲6.6	▲5.7	▲3.5	1.0
(参考)2015年～2022年 APC(%)	▲4.5	▲3.9	▲3.2	1.2	▲5.4	▲4.7	▲3.5	1.0
固形がん	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳
5年移動 APC(%)平均	▲3.4	▲2.6	▲4.4	▲0.5	2.2	▲3.1	▲1.6	0.0
(参考)2015年～2022年 APC(%)	▲3.4	▲2.6	▲4.4	▲0.6	5.2	▲2.8	▲1.5	0.1

出典：国立がん研究センターがん情報サービス「がん統計」（厚生労働省人口動態統計）「新基準人口：全国がん死亡データ（1979年～2022年）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 腫瘍用薬量の推移



出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）「内服_外来（院外）_性年齢別薬効分類別数量」、「内服_外来（院内）_性年齢別薬効分類別数量」、「注射_性年齢別薬効分類別数量」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

薬は注射用腫瘍用薬全体の1～2%程度であったが、5年移動APC平均でみると男児で13.2%、女児では6.3%であり、新薬と同様に高い増加率が示された。

AYA群では、腫瘍用薬総単位数の5年移動APC平均は男性▲0.3%、女性0.4%であった。2022年度の新薬割合は男性で29.1%、女性は16.7%に達し、2015年度に比して男女とも約2.5倍に増加して

おり、5年移動APC平均は男性14.7%、女性19.7%であった。バイオ腫瘍用薬割合は、男性で増加傾向にあり2022年度に注射用腫瘍用薬の約10%を占めていた。女性では大きな変動はなく20%強で推移していた（5年移動APC平均：男性3.2%、女性1.1%）。

成人群では、女性で腫瘍用薬単位数に顕著な増加が認められ、5年移動APC平均は3.7%であった（男性▲0.5%）。2022年度の新薬割合は男性で25.5%、女性は13.5%に達しており、5年移動APC平均は男性19.3%、女性29.6%であった。バイオ腫瘍用薬の割合は、2022年度には男性26.4%、女性が30.6%に達していた（5年移動APC平均：男性5.1%、女性2.0%）。

高齢者群においても女性に腫瘍用薬単位数の増加が認められ、5年移動APC平均は男性1.5%、女性5.0%であった。2022年度の新薬の割合は男性で30.9%、女性で16.8%であり、5年移動APC平均は男性30.5%、女性27.3%であった。男女ともにバイオ腫瘍用薬の割合は経年的に伸長し、2022年度には男性で28.9%、女性で29.8%となり、5年移動APC平均は男性7.3%、女性3.6%であった。

なお、20歳から39歳のがんでは約80%を女性が占めると報告⁷⁾されており、乳がん、子宮がんの好発年齢は40～60歳に集中している⁸⁾ため、AYA、成人世代の女性の腫瘍用薬量は同年齢群の男性と比べて多いことが推察される。以降に示す悪性腫瘍手術、放射線治療のレセプト数の男女差も同様の理由が推察される。

(3) がん特異的検査の推移

がん特異的検査のレセプト数の推移を図4に示す。小児群では、男女ともにがん特異的検査レセプト数は経年的な増加が認められ、5年移動APC平均は男児2.6%、女児3.9%であった。2022年度の

がん特異的検査全体に対する遺伝子検査の割合は、男児8.3%、女児5.9%に達し、5年移動APC平均は男児6.8%、女児3.7%であった。

AYA群の特異的検査のレセプト数は、女性が男性の2倍以上を示していた。男女とも経年的に減少傾向にあり、5年移動APC平均は男性▲0.5%、女性▲1.1%であった。2022年度の遺伝子検査の割合は男性5.8%、女性2.4%であり、5年移動APC平均は男性8.6%、女性14.0%であった。

成人群のレセプト数は、男女に大きな差はなく、5年移動APC平均は男性▲0.5%、女性0.1%であった。2022年度の遺伝子検査割合は男性3.9%、女性3.7%とほぼ同程度であり、5年移動APC平均は男性13.7%、女性17.8%と高い増加率を示した。

高齢者群のレセプト数は、男性が優位となり、5年移動APC平均は男性0.2%、女性▲0.4%であった。2022年度の遺伝子検査割合は成人群と同様、男性3.8%、女性3.6%と同程度であり、5年移動APC平均は男性16.5%、女性17.2%と、ともに高い増加率であった。これらのデータより、がん特異的検査においては若年層では遺伝子検査の割合が相対的に高く、遺伝子検査割合の変化率は、高齢になるに従い高まっていることが解った。高齢者に多い肺がん等の固形がんの診療において、特定の遺伝子変異を有するがんの特異的に作用するキナーゼ阻害薬や抗体等の新規腫瘍用薬の臨床利用の拡大に伴い、遺伝子パネル検査⁹⁾等を活用し、薬剤効果を検証するコンパニオン診断が増加していることが推察された。

(4) がん対象手術の推移

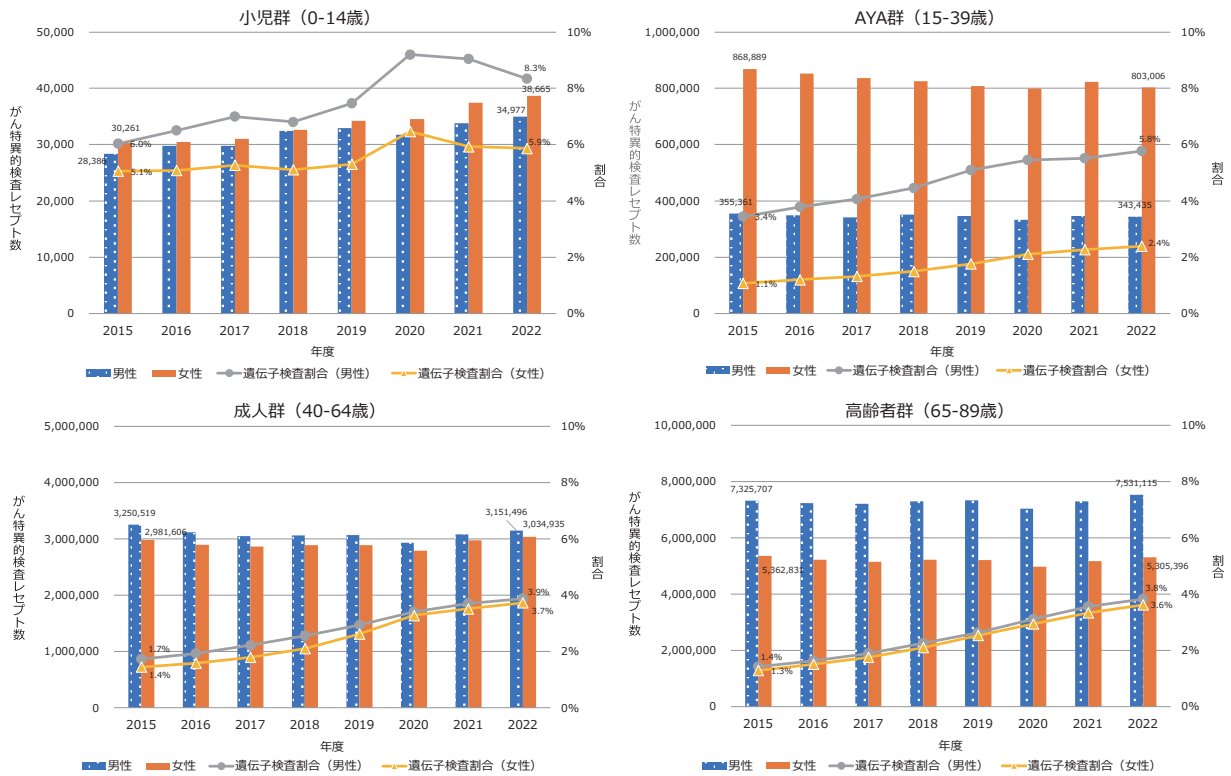
NDBオープンデータの手術レセプトデータから、悪性腫瘍を対象とした手術のレセプト数を集計した（図5）。経年的にみると悪性腫瘍手術（以下、がん手術）レセプト数は、小児群、AYA群

7) 国立研究開発法人 国立がん研究センターホームページ、「院内がん登録 小児・AYA世代がん集計 について」
https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2019/1018/index.html

8) 内閣府ホームページ、男女共同参画局男女共同参画白書令和6年版、「特集編 仕事と健康の両立～全ての人が希望に応じて活躍できる社会の実現に向けて～」、特－15図（p18）
https://www.gender.go.jp/about_danjo/whitepaper/r06/zentai/pdf/r06_05.pdf

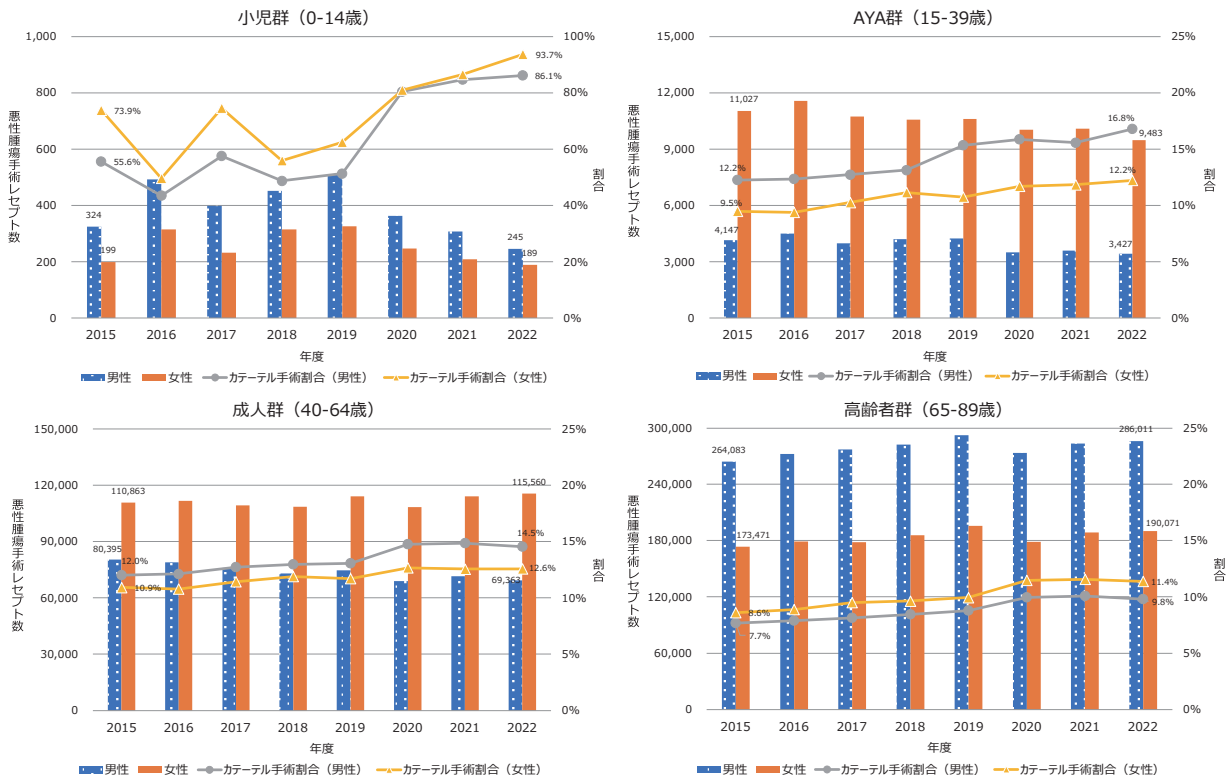
9) 国立研究開発法人 国立がん研究センターホームページ、がんゲノム情報管理センター（2023年度版）「データで見るC-CAT」 <https://www.ncc.go.jp/jp/about/pamphlet/digitalbook/c-cat/book.pdf>

図4 がん特異的検査レセプト数の推移



出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）医科診療行為「D 検査_性年齢別算定回数」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図5 悪性腫瘍手術レセプト数の推移



出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）医科診療行為「K 手術_性年齢別算定回数」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

で男女とも減少傾向、成人群では男性が減少傾向、高齢者群では男女とも若干の増加傾向にあった。腫瘍用薬量等と異なり、いずれの群も2020年に手術数の一時的落ち込みがみられたが、COVID-19パンデミックによる影響が考えられた。

2015～2022年度の5年移動でみたがん手術レセプト数の5年移動 APC 平均を算出すると、小児群では男児▲4.5%、女児▲2.3%であった。腫瘍用薬の局所投与、持続投与を目的とした“抗悪性腫瘍剤動脈、静脈又は腹腔内持続注入用植込型カテーテル設置”手術（以下、抗がん剤カテーテル設置術）の、がん手術全体に対する割合をみると、小児では男女とも2022年度に約90%に達し、5年移動APC平均は男女それぞれ10.7%、6.9%と高い増加率であった。小児がんに対する手術治療において、抗がん剤投与カテーテル設置手術は主力となっていることが確認された。

AYA 群のレセプト数の5年移動 APC 平均は、男性▲3.5%、女性▲2.2%であった。2022年度の抗がん剤投与カテーテル設置術の割合は、男性16.8%、女性12.2%であり、5年移動 APC 平均は男性5.9%、女性3.9%と小児群同様に高い増加率であった。

成人群のレセプト数の5年移動APC平均は、男性▲2.1%、女性0.6%であった。2022年度の抗がん剤投与カテーテル設置術の割合は、男女それぞれ14.5%、12.6%であり、5年移動 APC 平均は男女それぞれ3.7%、2.6%であった。

高齢者群のレセプト数の5年移動 APC 平均は、男女それぞれ0.8%、1.1%であった。2022年度の抗がん剤投与カテーテル設置術の割合は、男性9.8%、女性11.4%であり、5年移動APC平均は男性4.9%、女性5.1%と若年者群と同等の高い増加率を示していた。

(5) 放射線治療の推移

放射線治療には、主に固形がんを対象として、摘出手術不能例や術前後に単独照射、もしくは腫

瘍用薬による化学療法と併用する「放射線化学療法 (chemo-radiotherapy : CRT)」があり、主に血液がん治療においては、造血幹細胞移植時にレシピエントの骨髓内の腫瘍細胞を壊滅させるために、化学療法に加え放射線による「全身照射 (total body irradiation : 以下、TBI)」を施す骨髓破壊の前処置がある。図6に2015～2022年度の放射線治療レセプト数の推移を示す（各種管理料と輸血製剤の血液照射を除く）。特徴としてAYA群、成人群で経年的な減少が認められた。

2015～2022年度の5年移動でみた放射線治療レセプト数の5年移動 APC 平均を算出すると、小児群では男児▲2.2%、女児▲1.2%であった。2022年度の放射線治療全体に対するTBIの割合は男児0.99%、女児0.52%であり、5年移動 APC 平均は男児▲4.2%、女児▲15.2%であった。小児の造血幹細胞移植においてTBIを含む移植前処置と化学療法のための移植前処置の治療成績はほぼ同等¹⁰⁾とされており、ミニ移植といわれる化学療法中心の低侵襲処置の選択が増えていることが推察された。

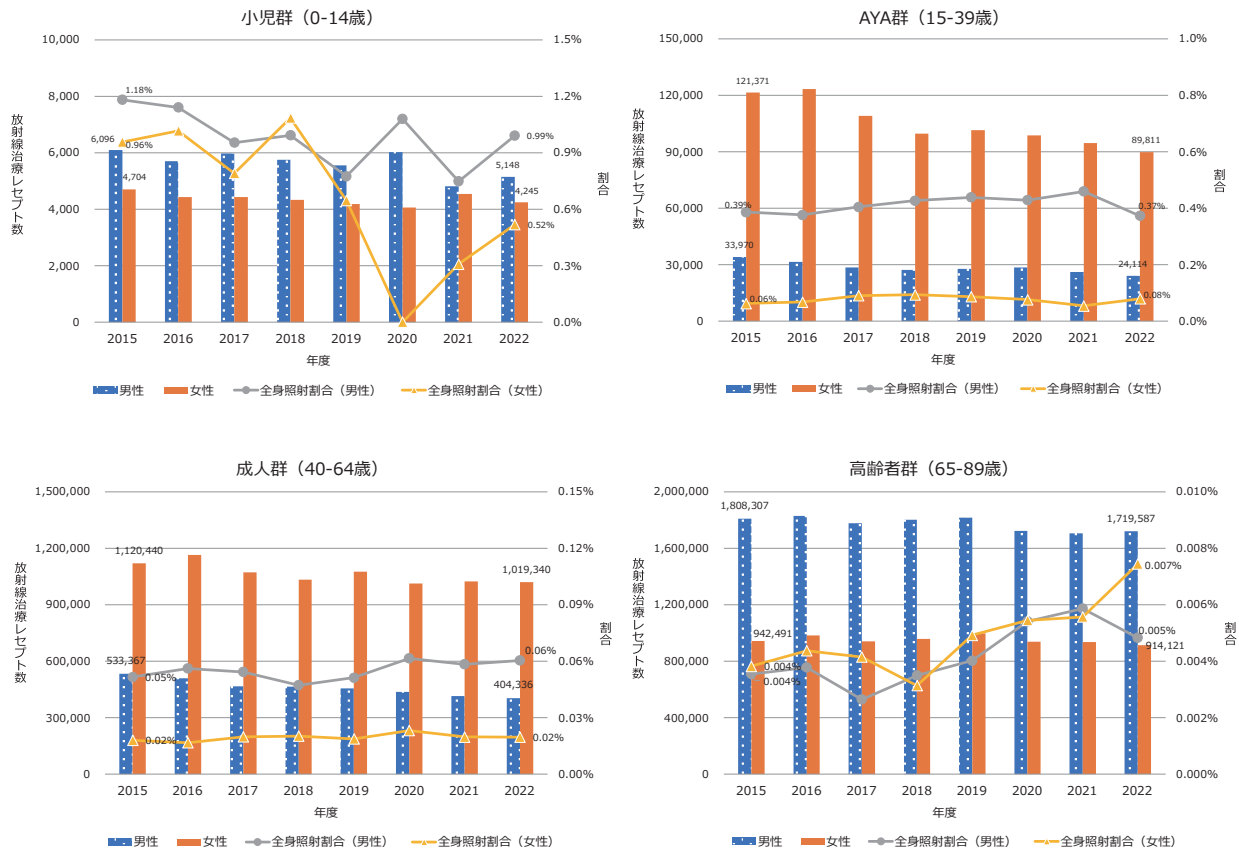
AYA 群のレセプト数の5年移動 APC 平均は、男性▲2.9%、女性▲4.1%であった。2022年度のTBIの割合は男性0.37%、女性0.08%であり、5年移動APC平均は男性2.0%、女性▲1.7%であった。

成人群レセプト数の5年移動 APC 平均は、男性▲3.5%、女性▲1.6%であった。2022年度のTBIの割合は、男女それぞれ0.06%、0.02%であり、5年移動 APC 平均は男女ともに2.5%であった。

高齢者群レセプト数の5年移動APC平均は、男女それぞれ▲1.0%、▲0.4%であった。2022年度のTBIの割合は、男性0.005%、女性0.007%であり、放射線治療全体からみると相対的数量は極めて小さいが、5年移動 APC 平均は男性11.8%、女性10.1%と経年的な増加が示され、図1で示したよう、高齢者の血液がん罹患数の増加と関連する可能性が示唆された。

10) 日本造血細胞移植学会、「造血細胞移植ガイドライン 移植前処置（第2版）」
https://www.jstct.or.jp/uploads/files/guideline/02_01_zenshochi.pdf

図6 放射線治療レセプト数の推移



出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）医科診療行為「M 放射線治療」性年齢別算定回数」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

(6) 造血幹細胞移植数の推移

がんの根治、もしくは腫瘍用薬による化学療法では病勢コントロールが困難になった血液がんと主に小児の固形がんの治療で行われる「造血幹細胞移植（以下、幹細胞移植）」の推移を図7に示す。一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター／日本造血・免疫細胞療学会は、移植登録一元管理プログラムを用いた国内全ての造血幹細胞移植の治療実績を集積し極めて詳細な分析を公表しているため、ここでは当データセンター「2023年度 全国調査報告書」より年齢群別の治療実績データを示す。なお当該データの内容改変は禁止となっているため、本稿で規定した年齢群の再集計はせず、公表されたグラフを引用した。

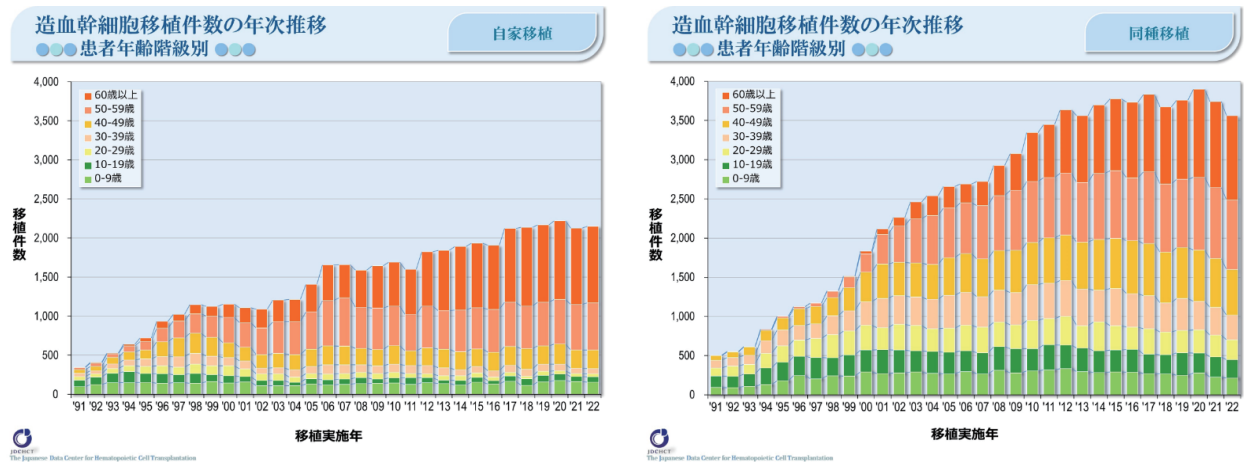
2022年度のデータでは、患者自身の検体から採取された幹細胞を用いる「自家移植」は1953件あり、そのうち末梢血幹細胞移植（peripheral blood stem cell transplantation：PBSCT）は99.8%を占

めていた（データ省略）。自家移植の75.9%を50歳以上の患者が占め（2015年度71.2%）、60歳以上は47.2%（2015年度41.3%）であった。他者由来の幹細胞を用いる「同種移植」は2939件あり、34.7%が臍帯血移植であった。同種移植のうち、50歳以上が57.7%（2015年度49.4%）、60歳以上が31.9%（2015年度26.1%）を占めており、自家移植と同様に、同種移植においても高年齢での実施数の増加が認められた。当調査報告書には「ミニ移植の普及にともなって移植の適応年齢が拡大し高年齢群の移植件数が増加している」と述べられていた。

(7) がん緩和・がん支持療法医薬品の推移

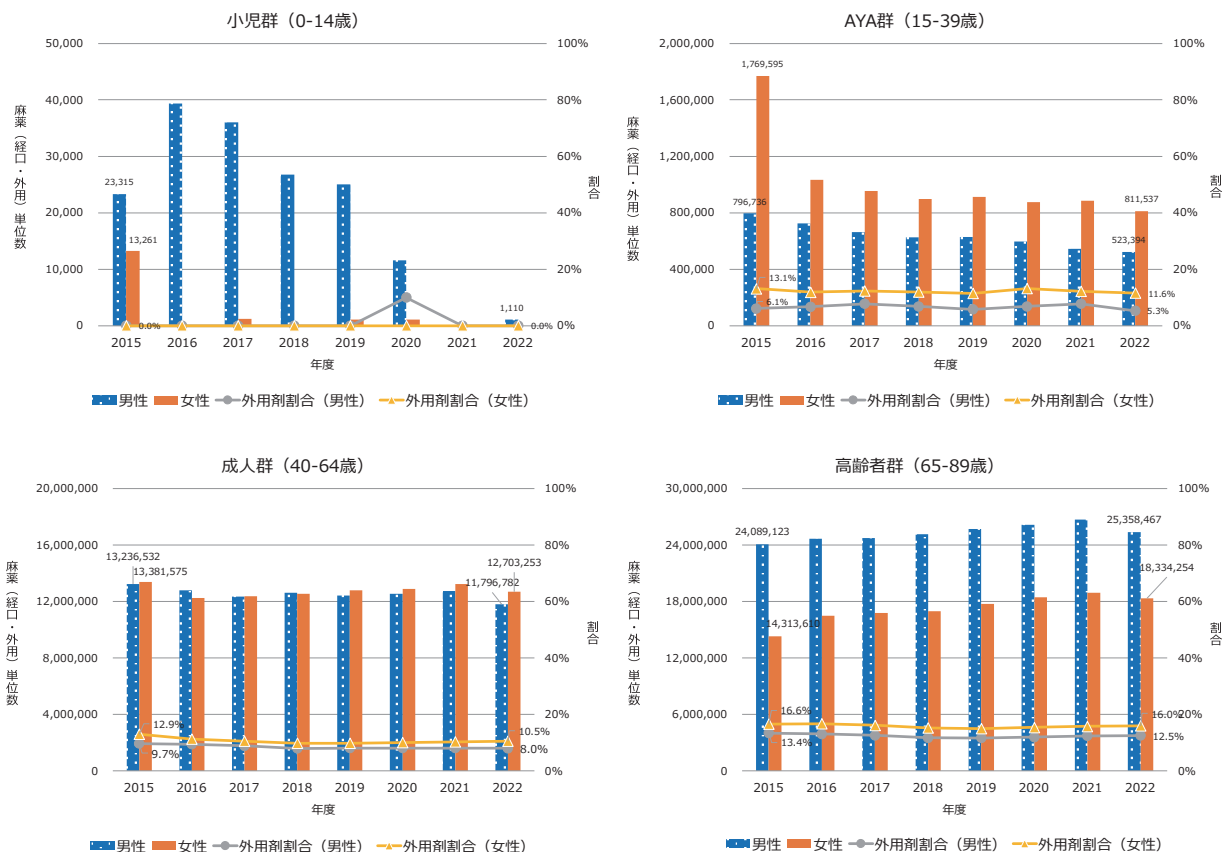
がん進行に伴う種々の症状（随伴症状）や、がん治療に伴う有害事象は時として患者の予後に影響するため、がん治療と並行してこれらの症状をコントロールすることが重要となる。図8に、がん随伴症状の緩和に用いられる医薬品として主に

図7 造血幹細胞移植数の推移（左：自家移植、右：同種移植）



出典：一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター／日本造血・免疫細胞療法学会「2023年度 日本における造血細胞移植スライド集」

図8 がん性疼痛治療用オピオイド単位数の推移

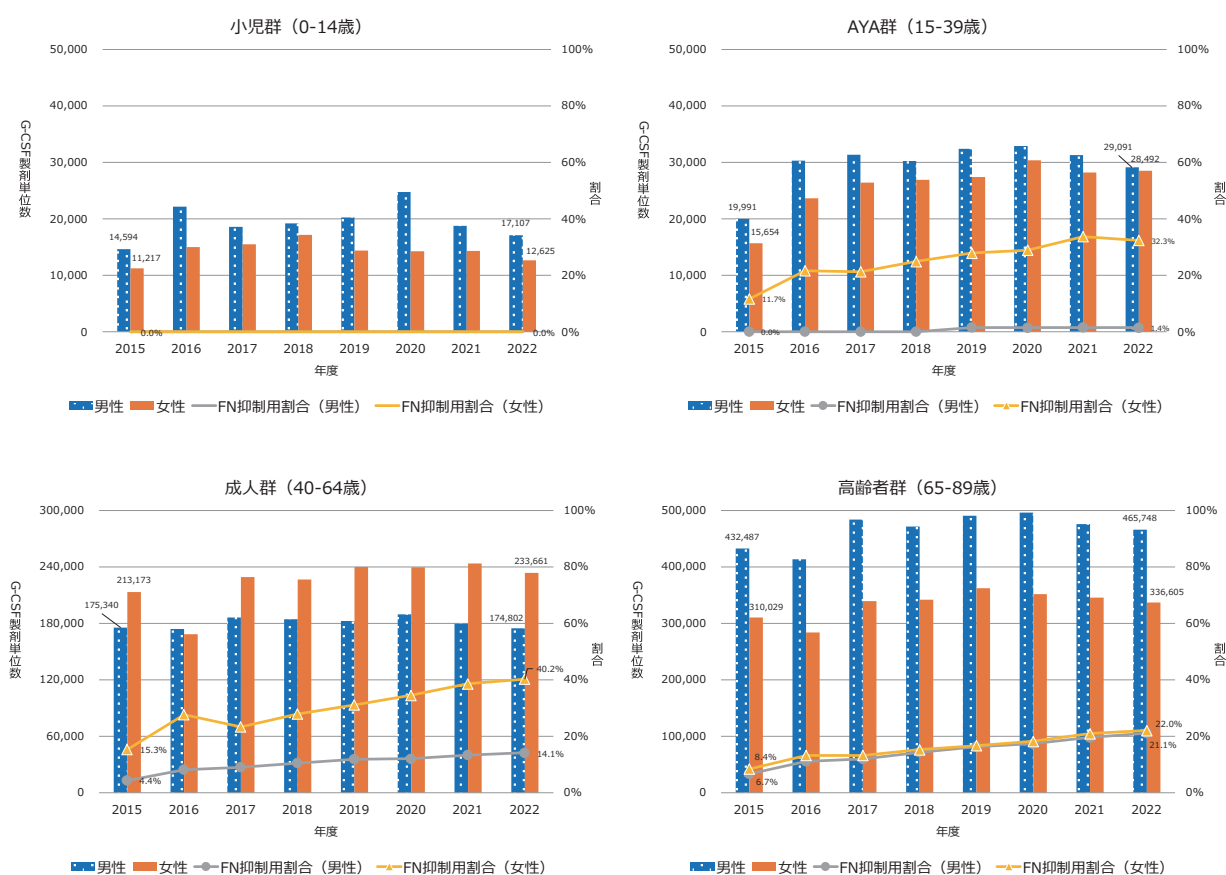


出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）処方薬（内服／外用）「性年齢別薬効分類別数量」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

がん性疼痛に用いられるオピオイドの単位数推移を、図9に、がん治療の支持療法として腫瘍用薬による骨髄抑制時に処方されるG-CSF製剤の単位数の推移を示す。

主にがん性疼痛に処方されるオピオイドとして、経口morphine、oxycodone、hydromorphone、tapentadol、methadone、口腔粘膜吸収型fentanyl、外用剤として経皮吸収型fentanyl、坐剤morphine

図9 G-CSF 製剤単位数の推移



出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回（2015年度）～第9回（2022年度）処方薬（注射）「性年齢別薬効分類数量」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

を集計した¹¹⁾。なお、各オピオイド注射剤と、弱オピオイドとして分類される codeine 類、tramadol、buprenorphine は、がん性疼痛治療以外の用途が多くを占めるため、集計から除いた。オピオイド単位の顕著な減少は小児群（5年移動APC平均：男児▲28.2%、女児▲13.6%）と AYA 群（5年移動 APC 平均：男性▲4.9%、女性▲5.3%）にみられた。成人群では男女ともに変化率は小さく（5年移動APC平均：男性▲0.6%、女性0.7%）、高齢者群は男女ともに増加、特に女性に高い増加率が示された（5年移動APC平均：男性1.4%、女性3.3%）。どの年齢群もオピオイド外用剤の割合は不変もしくは微減で推移していた（図8）。

細胞障害性腫瘍用剤の投与により引き起こされる骨髄抑制、それに伴う発熱性好中球減少症（fe-

brile neutropenia：FN）は、耐性菌感染や真菌感染等の難治性感染症に関連し、がん治療の成否、患者の生命予後に大きく影響する。骨髄幹細胞を刺激し免疫細胞を分化誘導する G-CSF（granulocyte colony stimulating factor）製剤の効果は、腫瘍用薬治療の成功を左右する。G-CSF 製剤単位数の推移（図9）は、小児群では男児が増加（5年移動 APC 平均：男児2.0%、女児▲0.6%）、AYA 群では女性の増加率が顕著であった（5年移動 APC 平均：男性2.9%、女性5.7%）。成人群も同様に女性の増加率が高く（5年移動 APC 平均：男性0.3%、女性4.0%）、高齢者群は男女ともに同等であった（5年移動 APC 平均：男性1.8%、女性2.5%）。2014年より「がん化学療法による発熱性好中球減少症（FN）の発症抑制」の適応で、PEG

11) 特定非営利活動法人 日本緩和医療学会ガイドライン統括委員会編、「がん疼痛の薬物療法に関するガイドライン（2020年版）」 <https://www.jsmp.ne.jp/files/guideline/pain2020.pdf>

化した長時間型G-CSF製剤が発売され予防的に使用できるようになったが（小児適応は無）、その割合は経年的に増加しており、特に女性患者で変化がみられた。

4. まとめと考察

がん治療は医療技術の集学的治療として進歩してきた。手術療法、薬物療法、放射線療法を基本として、年齢やperformance status等の患者の状態、がんの進行度を総合的に検討し、医師はこれらのがん医療技術を組み合わせ、各専門性を活かしたチーム医療として最適な医療が患者に提供されるよう尽力してきた。医療技術は科学の進歩に伴い高度化、個別化が進み、多くのがん種において全生存期間、無増悪生存期間の延長を実現してきた。医療技術の進化と患者への寄与、その理解を深めるために、本稿ではNDBをはじめとした各種オープンデータからがん医療の全体像を俯瞰し定量的に分析することを試みた。以下に分析を通じた考察を各年齢群別に述べる。

(1) 小児群

小児がんでは遺伝性腫瘍を疑い、確定診断には遺伝子異常の検出が鍵となるため、他の年齢群に比して、がん診断検査における遺伝子検査の割合が高い。また2019年には、網羅的な遺伝子異常検出を目的とした「がんゲノムプロファイリング検査（がん遺伝子パネル検査）」が保険適用となり、遺伝子検査の割合が更に増加していた。2015～2022年において、特に血液がんの死亡率に著明な減少が認められたことは、化学療法や移植医療といった従来治療に加え、遺伝子検査結果から適合する抗がん剤治療に繋げる「個別化医療」の進歩の寄与が示唆された。がん手術数の減少が顕著な

反面、抗がん剤投与用カテーテル設置術の割合が9割に達していたことから、小児がんにおいては薬物治療の比重が増加していることが推察された。

その中で今回の分析では、小児患者の新薬とバイオ医薬品の使用割合は、増加傾向にあるものの、相対的にみると他の年齢群と比して極めて低い状況であった。女児では固形がんの罹患率、死亡率の増加が示されており、新たな腫瘍用薬を選択できる機会を得る施策が求められる。2023年「厚生労働省 第12回今後のがん研究のあり方に関する有識者会議」の資料¹²⁾には、「がん遺伝子パネル検査の結果、遺伝子異常に適合する医薬品があっても、小児がん患者では、①保険診療下で使用できる薬はわずかである ②参加可能な治験が少ない ③小児用量が決まっておらず現行の患者申出療養の利用も困難」という課題が示された。これら課題解決に向け国立がん研究センターは2024年、主に「標準治療がない、または標準治療に抵抗性である0-29歳の小児・AYAがん患者」を対象とした「遺伝子パネル検査結果等に基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養」試験を医師主導臨床研究として開始した¹³⁾。研究基準に適合した参加患者は、製薬企業より無償提供された小児未承認の抗がん剤5品目をを用いた治療が提供され、小児・AYA患者のドラッグアクセス向上が期待される臨床研究である。しかしあくまで特定施設での研究範囲であり、限られた医薬品供給量と限られた患者数である。小児患者のアクセス改善に向け、新医薬品の小児適応の開発推進の政策である2024年度の薬価制度改革¹⁴⁾、PMDAが推進する「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」¹⁵⁾の効果が発揮されるよう、産官学の協力が一層期待される。

12) 令和5年（2023）厚生労働省 第12回今後のがん研究のあり方に関する有識者会議資料、「小児がん 今後の研究のあり方について」 <https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/001113904.pdf>

13) 国立研究開発法人国立がん研究センターホームページ、「小児・AYA世代がん患者のドラッグアクセスの改善を目指す複数の適応外薬、未承認薬を対象とする医師主導臨床研究開始」 https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2024/0119/index.html

14) 厚生労働省ホームページ、「令和6年度薬価制度改革について」 <https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001238906.pdf>

15) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）ホームページ、「PMDA 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターにおける業務開始について」 <https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

(2) AYA 群

AYA 群では、男女ともに固形がんの罹患率 APC では2.6%の減少を示し、2015～2022年の死亡率の5年移動 APC 平均は、血液がんで男性約4%の減少、女性約6%の減少が、固形がんでは男女とも約3%の減少がみられた。この間のがん医療技術の推移をみると、腫瘍用薬の処方量には大きな変化はなく、がん手術、放射線治療のレセプト数は男女ともに減少傾向であった。増加がみられたものは、遺伝子検査の割合、2010年以降に使用可能となった新薬とバイオ腫瘍用薬の割合、抗がん剤投与用カテーテル設置術の割合であった。AYA 群では小児群同様に、新しい腫瘍用薬と手術、放射線の医療技術との集学的治療（成人群の項で後述）の進歩と、遺伝子検査の結果から効率的な薬剤選択が可能になったことが、AYA群の生存アウトカムの改善に寄与していることが考えられる。また、がん疼痛の発症ががん進行の代替アウトカムとして考えると、AYA 群でがん疼痛治療用オピオイド量が経年的に減少していることは、新たな医療技術の普及が AYA 群のがんの進行・転移の抑制に貢献している可能性があると思われ、今後詳細な分析が期待される。

(3) 成人群

成人群のがん罹患率 APC は、固形がんでは男性約4%、女性は約2%の減少が確認され、血液がんでは男女1～2%の減少であった。2015～2022年のがん死亡率5年移動 APC 平均は、血液がんでは男女とも約4%、固形がんでは男性約4%、女性2%弱の減少であった。この期間の医療技術の推移をみると、がん特異的検査のレセプト数には大きな変動はなく遺伝子検査の割合は増加し、腫瘍用薬では女性で総単位数の大幅な増加がみられ、新薬割合の増加は男女ともに認められた。がん手術レセプト数では男性は減少傾向であり、抗がん剤投与用カテーテル設置術割合は男女とも増加していた。近年、キナーゼ阻害薬、HER2

抗体、免疫チェックポイント阻害薬等の新規腫瘍用薬を用いたneoadjuvant/adjuvant療法（術前／術後補助療法）のエビデンスが増え、また放射線治療レセプト数は減少傾向だが、非小細胞肺がんの周術期に化学放射線治療と免疫チェックポイント阻害薬を組み合わせる集学的治療の有効性を示しており¹⁶⁾、新たな医療技術の臨床応用が進んでいることが推察される。がん死亡率の減少は示されているが、がん疼痛治療用オピオイドの使用量には変化は認められず、がん疼痛の主な原因であるがんの進行・転移の抑制という点で、成人群患者に対する医療技術には未だ課題が残っていると思われる。

(4) 高齢者群

高齢者群のがん罹患率は、APCでみると固形がんでは男女1.5%前後の減少が確認されたが、血液がんでは男女約1%の増加であった。がん死亡率の5年移動 APC 平均は、固形がんでは男性で僅かな減少、血液がんでは男女ともに約1%の増加を示した。このように高齢者では血液がんの罹患率、死亡率が増加していることが示され、日本造血・免疫細胞療法学会が示す高齢者の造血幹細胞移植件数の増加に符号するものと考えられた。男女ともに腫瘍用薬の使用量、新薬割合、バイオ腫瘍用薬割合、遺伝子検査割合は経年的な増加を示した。がん手術レセプト数は男女ともに大きな変化はなかったが、他の年齢群と同様、カテーテル設置術の割合は増加していた。オピオイド使用量は男女ともに増加しており、新しいがん医療技術が普及したとしても、高齢がん患者の疼痛症状を根治するには、依然として高い壁が存在すると思われる。

(5) すべての年齢群

細胞障害性腫瘍用薬からキナーゼ阻害薬、抗体医薬等の新規腫瘍用薬へのシフトが進む中、15歳以上の患者群はいずれも G-CSF 製剤の減少は無く、群によっては増加が認められた。つまり現在

16) 金 永学 肺癌治療における免疫療法の射程と解決すべき課題 肺癌62(S), p918-921, 2022
https://www.jstage.jst.go.jp/article/haigan/62/Supplement/62_918/_pdf/-char/en

のがん治療において好中球減少症はこれまでと同様、コントロールしなければならない重要な副作用であることが示された。がん治療による好中球減少症、それに伴う耐性菌や真菌などによる難治性感染症はがん患者の治療に起こり得る重篤な二次障害であり、難治性感染症の制御はがん治療の成功に不可欠な要素である。骨髄への影響が少なくなった新規腫瘍用薬が増加しているとはいえ、現在でも固形がんに対するキードラッグは、プラチナ製剤、タキサン、代謝拮抗剤、トポイソメラーゼⅠ阻害薬、抗生物質といった従来から処方されてきた細胞障害性の腫瘍用薬である。新規の腫瘍用薬は、臨床試験でこれらキードラッグとの併用レジメンを進化させてきた。今後、好中球減少症をはじめとする全身性副作用を抑制するために、ADCのように腫瘍局所で作用し、がんの増殖抑制を可能とする新規モダリティ開発が腫瘍用薬創薬における重要な課題と考える。

5. おわりに

国民個人が罹患した疾患、施された医療技術、検査データ、介護状況、アウトカム等の医療等情報の蓄積は、将来への貴重な社会資源とされる。医療ビッグデータの分析は医療技術の効率的、効果的な選択と、将来に向けた医療技術の研究開発に活用され、医療の進歩に大きく寄与すると期待

されている¹⁷⁾。本年4月に改正次世代医療基盤法が施行され、NDBをはじめとした従来の医療情報に加え、仮名加工医療情報を健康・医療分野の研究開発に二次利用することを可能とする環境が整備された。本年にNDBに死亡情報が連結されるとあり¹⁸⁾、全死亡情報におけるレセプトとの連結割合は93.9%に向上したことが検証され¹⁹⁾、医療技術とアウトカムの分析に一步近づくものと思われる。しかし、患者アウトカムに連動させた医療技術評価を実施するには未だ長い道程がある。本稿で示したように「がん」という疾患は他の疾患に比べて、医療技術は多様で集学化している。現在のオープンデータベースでは、個々の医療技術がどのようにアウトカムに影響し合うか評価できる分析までには至らない。患者アウトカムに強く影響する、疾患重症度・ステージ、併存症、検査値、performance status等の患者状態を示すパラメータを患者カルテから分析に組み込む必要がある。更に、遺伝子異常を特定したゲノム情報がデータベースに連結されることが期待されている。蓄積された大規模な医療データが患者・国民全体のメリットとして還元されるために、医療技術評価に精確性をもたらし次世代の医療技術開発に繋げることができるよう、ICT技術革新による「多様な情報の連結」と「情報の標準化」の迅速なシステム構築を政府に期待したい。

17) 厚生労働省ホームページ、医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ 資料
https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_36181.html

18) 医薬産業政策研究所、「製薬企業が医療情報の利活用時に求める要素」、政策研ニュース No.72 (2024年7月)
<https://www.jpma.or.jp/opir/news/072/03.html>

19) 厚生労働省ホームページ、匿名医療・介護情報等の提供に関する委員会 (第17回) 資料
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198094_00083.html

参考１ がん罹患率算出に用いたパラメータ：国立がん研究センターがん情報サービス、「がん統計」（全国がん登録）

		男性				女性			
	年	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳
人口* ¹	2016	8,080,000	17,335,000	21,354,000	14,544,000	7,701,000	16,624,000	21,251,000	18,121,000
人口* ¹	2017	7,984,000	17,117,000	21,292,000	14,767,000	7,611,000	16,393,000	21,160,000	18,332,000
人口* ¹	2018	7,893,000	16,923,000	21,258,000	14,919,000	7,522,000	16,166,000	21,102,000	18,474,000
人口* ¹	2019	7,789,000	16,776,000	21,247,000	15,019,000	7,420,000	15,977,000	21,075,000	18,553,000
人口* ¹	2020	7,700,036	16,677,963	21,330,614	15,038,576	7,331,566	15,944,601	21,134,687	18,596,718
がん罹患数									
全部位がん	2016	1,211	7,228	111,692	428,135	933	15,220	125,088	257,469
全部位がん	2017	1,212	6,616	105,699	425,894	1,011	14,494	119,963	252,695
全部位がん	2018	1,144	6,825	102,583	427,631	950	13,985	119,047	256,161
全部位がん	2019	1,151	6,757	101,335	434,282	966	13,867	120,944	262,867
全部位がん	2020	1,121	6,325	93,819	411,033	959	13,230	113,504	248,810
血液がん	2016	587	1,406	7,358	20,177	413	1,072	5,857	16,429
血液がん	2017	601	1,319	7,381	20,535	413	1,082	5,814	16,619
血液がん	2018	583	1,382	7,555	21,047	425	1,032	5,713	17,414
血液がん	2019	575	1,367	7,233	21,388	420	1,032	5,699	17,807
血液がん	2020	554	1,308	7,084	21,430	412	1,058	5,346	17,333
固形がん	2016	334	3,881	99,226	397,115	293	13,539	115,848	232,089
固形がん	2017	304	3,618	93,292	394,557	361	12,828	110,869	227,298
固形がん	2018	276	3,615	89,728	395,070	325	12,326	109,412	229,128
固形がん	2019	280	3,594	88,677	400,976	315	12,241	111,346	235,084
固形がん	2020	280	3,257	81,129	377,158	333	11,521	104,087	221,174

参考2 がん死亡率算出に用いたパラメータ：国立がん研究センターがん情報サービス、「がん統計」（厚生労働省人口動態統計）
新基準人口：全国がん死亡データ（1979年～2022年）より算出

		男性				女性			
	年	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳	0－14歳	15－39歳	40－64歳	65－89歳
人口*2	2015	8,081,931	17,142,481	21,201,008	14,189,767	7,702,628	16,434,019	21,022,881	17,762,493
人口*2	2016	7,992,446	16,823,585	21,113,848	14,483,990	7,616,294	16,118,658	20,903,863	18,044,318
人口*2	2017	7,890,007	16,542,363	21,045,930	14,702,862	7,519,837	15,839,894	20,803,211	18,253,789
人口*2	2018	7,793,179	16,266,931	21,002,939	14,855,930	7,427,735	15,566,126	20,733,473	18,393,501
人口*2	2019	7,683,080	16,014,593	20,978,925	14,954,989	7,319,983	15,317,988	20,687,691	18,468,481
人口*2	2020	7,585,953	15,857,267	20,999,272	14,959,580	7,224,536	15,220,954	20,671,188	18,494,482
人口*2	2021	7,456,741	15,636,126	20,954,594	14,995,783	7,102,699	15,000,636	20,610,229	18,502,903
人口*2	2022	7,307,233	15,423,821	20,943,780	14,958,460	6,960,345	14,777,984	20,584,022	18,443,629
がん死亡数									
全部位がん	2015	155	1,132	30,984	172,819	130	1,452	22,597	103,179
全部位がん	2016	141	1,124	29,162	173,648	114	1,437	21,922	104,859
全部位がん	2017	138	1,045	27,193	175,016	113	1,284	20,942	104,447
全部位がん	2018	141	961	25,685	173,692	141	1,169	20,752	105,762
全部位がん	2019	151	911	24,730	174,899	106	1,222	20,527	105,600
全部位がん	2020	117	942	23,685	175,474	114	1,062	19,981	106,931
全部位がん	2021	127	921	23,089	176,397	106	1,050	19,714	107,317
全部位がん	2022	110	828	22,823	176,446	120	1,144	20,123	109,553
血液がん	2015	56	247	1,976	10,717	49	145	1,244	8,093
血液がん	2016	43	212	1,995	11,382	30	139	1,154	8,288
血液がん	2017	45	219	1,855	11,423	38	140	1,019	8,093
血液がん	2018	44	184	1,747	11,477	49	125	1,015	8,421
血液がん	2019	54	165	1,669	11,811	32	125	959	8,405
血液がん	2020	35	179	1,607	12,017	30	96	941	8,775
血液がん	2021	31	180	1,583	12,250	23	92	936	8,711
血液がん	2022	37	159	1,651	12,482	30	108	945	9,027
固形がん	2015	65	663	27,438	155,371	36	1,117	19,832	89,300
固形がん	2016	57	677	25,635	155,555	52	1,130	19,388	90,544
固形がん	2017	56	638	23,923	157,118	55	993	18,592	90,480
固形がん	2018	63	587	22,625	155,591	58	917	18,378	91,473
固形がん	2019	54	563	21,807	156,440	39	966	18,177	91,191
固形がん	2020	45	579	20,757	156,711	55	844	17,600	92,022
固形がん	2021	55	536	20,238	157,257	55	827	17,442	92,482
固形がん	2022	42	499	19,891	156,817	57	898	17,616	94,054

* 1：総務省 人口推計 各年10月1日現在人口推計（年齢（各歳）、男女別人口及び人口性比－総人口）の各歳人口を合計して算出（年齢階級別および年齢不詳人口の合計が全年齢人口に一致しない場合がある。）

* 2：全国年齢階級別日本人人口（男女計人口と「男性人口と女性人口の和」が一致しない場合がある。）

補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移 —2024年度薬価制度改革後の収載3回分を含めた調査—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

要約

- 本稿では、補正加算を中心とした新医薬品の算定状況を公開情報である中医協資料をもとに調査し、2024年度薬価制度改革前後を中心に動向を分析した。2024年度は収載実績がまだ3回分であり十分なデータが揃っていないものの、新有効成分含有医薬品30品目の収載があったことから、現時点での暫定的な分析は可能と判断し実施した。
- 2024年度薬価制度改革で充実が図られた各種加算制度の影響を暫定的に調査した結果、有用性系加算、市場性加算／小児加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）に該当した割合は、いずれも増加傾向が認められた。一方、2024年度薬価制度改革では継続審議となった原価計算方式の開示度、加算係数の制度は、依然、課題として残っている様子が伺われた。
- 原価計算方式の一部に課題を残しつつも、医薬品の価値がより評価され始めてきている、もしくは評価され得る価値を有する医薬品の上市が増えていることが示唆され、医薬品のイノベーションの適切な評価と革新的新薬の持続的な創出の好循環の実現に向けて、今後の動向に期待がもたれる。

1. はじめに

日本における新医薬品の薬価は、「薬価算定の基準について」で規定されたルールに基づき決定される¹⁾。この新医薬品の薬価算定に関する制度は、昭和57年に厚生省医政局長の私的諮問機関である「新医薬品の薬価算定に関する懇談会」で検討され、「新医薬品の薬価算定に関する懇談会報告」によってルール化²⁾されて以降、様々な変遷をたどってきた。創薬環境等の変化に伴い、医薬品の価値を評価する変更と共に、国民皆保険の維持に向け薬剤費抑制の方向に働く変更もなされてきたが、中でも「補正加算」の制度は、医薬品の価値やイノベーション等を評価する制度として時代と共に変遷してきており、2024年度薬価制度改革においても、様々な拡充があった³⁾。

本稿では、主に補正加算に着目し、新医薬品の薬価算定について2024年度薬価制度改革前後の状況を公開情報に基づいて調査、考察することにした。

2. 調査方法

2018年4月から2024年8月までに新医薬品として収載された新有効成分含有医薬品について、収載時薬価に関する情報（薬価算定方式、補正加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、新薬

1) 「薬価算定の基準について」（令和6年2月14日付け保発0214第1号厚生労働省保険局長通知）

2) 新医薬品の薬価算定に関する懇談会、「新医薬品の薬価算定に関する懇談会報告書」（昭和57年7月8日）（出典：国立社会保障・人口問題研究所ホームページ「日本社会保障資料Ⅳ（1980－2000）」資料番号276 <https://www.ipss.go.jp/publication/j/shiryoku/no.13/data/shiryoku/iryou/276.pdf>（参照：2024/10/01））

3) 厚生労働省 令和6年度診療報酬改定説明資料等について「令和6年度薬価制度改革について」、厚生労働省保険局医療課、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001238906.pdf>（参照：2024/10/01）

創出等加算))を、中央社会保険医療協議会(以下、中医協)「新医薬品一覧表」⁴⁾などから取得した。同一成分かつ同一投与形態は1としてカウントした。

薬価制度改革は2年に1度行われ、その都度種々の変更があるが、2018年度は抜本改革として特に大きな見直しがあり、中でも、補正加算と新薬創出等加算で大幅な制度変更があった。2018年度の制度改革以前の補正加算は類似薬効比較方式(I)での算定品目のみを対象とした制度であり、原価計算方式では営業利益率の増減によって追加的な評価がされてきたが、2018年度より原価計算方式でも類似薬効比較方式と同様の補正加算の制度が導入され、薬価全体に加算がなされるようになった。また、新薬創出等加算は「乖離率(市場実勢価格と薬価の差)が平均以下」という従来の品目要件を撤廃し、対象品目が希少疾病用医薬品、収載時に有用性加算などを取得した医薬品、新規作用機序の医薬品などに限定された⁵⁾。こうした2018年度抜本改革の影響については過去の政策研ニュースで調査、分析済みである⁵⁾こと、また、補正加算等の各種加算制度の調査を2024年度の薬価制度改革に着目して行うには2018年度以降に収載された医薬品に限定し2018年度抜本改革による変動を除外する必要があると判断したことから、本稿の調査対象期間は2018年4月から2024年8月までとした。

なお、薬価制度は2018年度以降も2年に1度の制度改革で種々の変更があるため厳密には複数年度にわたって一概に比較できない点も多い。実際に、新薬創出等加算は制度改革のたびに対象品目の要件が追加となっていることから、本稿では制

度改革ごと(2年ごと)の比較を行った。一方、補正加算については2020、2022年度の変更は限定的^{6、7、8)}なものであり、特に有用性系加算、市場性加算、小児加算への変更はなかったことから、2024年度薬価制度改革の前後で比較可能と判断した。ただし、2024年度の収載はまだ3回分(新有効成分含有医薬品30品目)であり、制度改革前のデータ(2018~2023年度に収載された新有効成分含有医薬品243品目)と比べて数が少ない。したがって、本稿は2024年度薬価制度改革が補正加算を中心とした算定状況に及ぼした影響を現時点のデータをもとに暫定的に調査・分析するものであることを事前に提示しておく。

次に、分析の切り口を2-1から2-3で示す。

2-1. 算定方式

新有効成分含有医薬品が該当する算定方式は、主に類似薬効比較方式と原価計算方式である(図1)。類似薬効比較方式には(I)と(II)があるが、類似薬効比較方式(II)は補正加算の対象外となる。そこで、新医薬品として収載された新有効成分含有医薬品について、類似薬効比較方式(I)と原価計算方式に該当した割合の全体的な傾向と投与形態別の傾向を調査した。

2-2. 補正加算

新有効成分含有医薬品が収載時に該当する可能性がある補正加算は、有効性や安全性等の観点で革新性・有用性を評価する加算である有用性系加算(画期性加算、有用性加算(I)、有用性加算(II))、市場規模が小さいが医療上の必要性が高い医薬品

4) 中央社会保険医療協議会、資料、厚生労働省、https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128154.html (参照：2024/10/01)

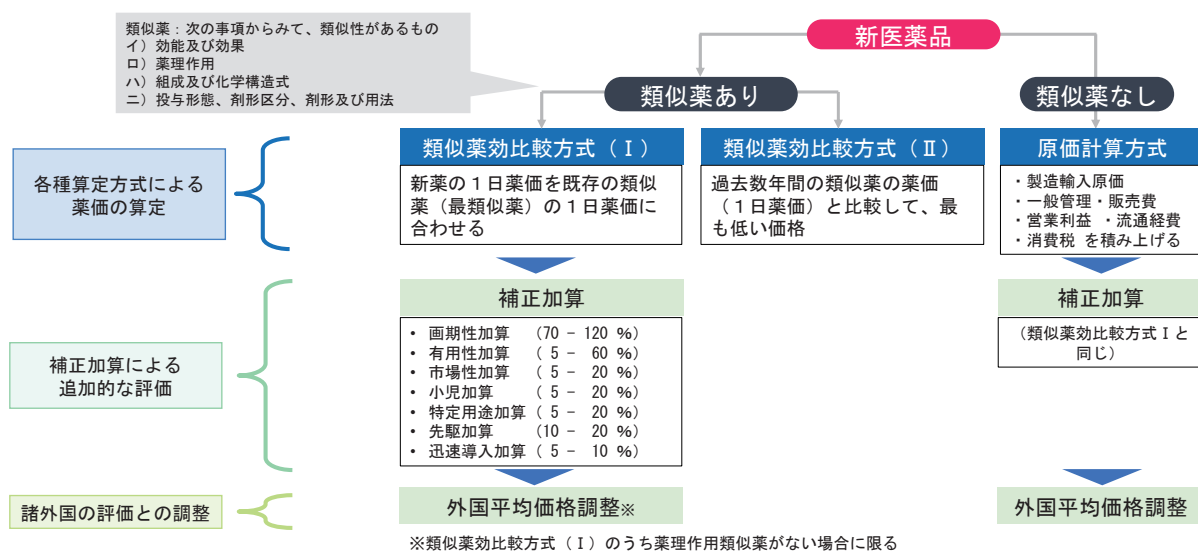
5) 医薬産業政策研究所、「新薬の薬価収載状況—2018年度薬価制度抜本改革の収載時薬価への影響—」、政策研ニュース No.64 (2021年11月)

6) 補正加算の制度に関して2020年度の変更はなかった。2022年度は特定用途加算の追加、先駆加算の名称変更、加算係数の変更(2018年度に原価計算方式に導入された制度。製品総原価のうち、薬価算定組織での開示が可能な部分の割合(開示度)に応じて、加算率に差を設ける。2022年度に、開示度50%未満の品目の加算係数が0.2から0に変更された。)がなされたが、有用性系加算、市場性加算、小児加算等への変更はなかった。

7) 厚生労働省 令和2年度診療報酬改定説明資料等について「令和2年度薬価制度改革の概要」、厚生労働省保険局医療課、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000607236.pdf> (参照：2024/10/01)

8) 厚生労働省 令和4年度診療報酬改定説明資料等について「令和4年度薬価制度改革について」、厚生労働省保険局医療課、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000942948.pdf> (参照：2024/10/01)

図1 薬価算定（薬価収載時）の基本的考え方



出所：中央社会保険医療協議会で示された「新医薬品の薬価算定方式（全体像）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表1 収載時の補正加算の種類

	加算名称	加算率	評価対象	
いずれか1つのみ	画期性加算	70～120%	①臨床上有用な新規の作用機序 ②類似薬に比した高い有効性又は安全性 ③対象疾病の治療方法の改善 ④製剤工夫による高い医療上の有用性	革新性・有用性を評価
	有用性加算(I)	35～60%		
	有用性加算(II)	5～30%		
併算定不可	市場性加算(I)	10～20%	希少疾病用医薬品	市場規模が小さいが医療上の必要性が高い医薬品等を評価
	市場性加算(II)	5%	希少疾病用医薬品以外の市場規模の小ささ	
	特定用途加算 [2022～]	5～20%	特定用途医薬品	
	小児加算 [2006～]	5～20%	小児用医薬品	
併算定不可	先駆加算 [2014～] ^注	10～20%	先駆的医薬品（世界に先駆けて日本で開発）	日本への早期導入のインセンティブ
	迅速導入加算 [2024～]	5～10%	日本へ迅速に導入されたもの	

注：2014年度に先駆導入加算として新設された加算が、2016年度より先駆け審査指定品目と要件変更になった。先駆け審査指定制度の名称変更により、2022年度より先駆加算に名称変更された。

出所：厚生労働省資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

等々を評価する加算（市場性加算(I)、市場性加算(II)、特定用途加算、小児加算）、日本への早期上市のインセンティブとして設けられた加算（先駆加算、迅速導入加算）である（表1）。

こうした加算はこれまでの薬価制度改革で状況の変化に応じた見直しが行われてきたが、2024年度薬価制度改革においても、顕在化したドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスへの対応としてイノベーションの評価の拡充が図られ、各種加算の制度に多くの変更があった（表2）。具体的には、補正加算

のうち有用性を評価する加算である有用性系加算への要件追加（表3）、市場性加算や小児加算での加算率の柔軟な運用、日本への早期導入に関するインセンティブとしての加算の新設、さらには収載後の薬価の維持に関する制度である新薬創出等加算の対象品目の追加がなされた。2024年度薬価制度改革後の収載は3回分（4月収載、5月収載、8月収載）のみであり、正確な分析にはデータが不足している可能性は否めないが、現時点でのこうした制度変更の影響の程度を調査した。

表2 2024年度薬価制度改革における収載時に関する主な変更点

主な事項	概要	詳細
日本への早期導入に関する評価	加算の新設	迅速導入加算
新薬創出等加算の見直し	対象品目の追加	小児用医薬品、迅速導入加算等
新薬の薬価収載時における評価	有用性系加算の評価の充実	要件の追加／変更 〈例〉 ・投与患者数が著しく少なく、市場規模も小さい希少疾病用医薬品（例：500人未満／50億円未満など） ・重篤な疾病を適応対象とする場合、新生児・乳児又は低年齢の幼児を対象とした臨床試験が行われた場合等 ・実施困難な国際共同治験への参加により世界の開発に合わせて日本でも開発されていた場合等
	市場性加算、小児加算等の加算率の柔軟な判断	
新規モダリティのイノベーション評価	原価計算方式における開示度向上 再生医療等製品を含む新規モダリティの評価	引き続き検討 次期改定に向け検討

出所：厚生労働省資料「令和6年度薬価制度改革について」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表3 有用性系加算等の定量化のための評価項目（下線：2024年度見直し部分）

		ポイント
① 臨床上有用な新規の作用機序（該当する項目ポイントの合計により算出。a、bはいずれか1つ）		
a.	薬理作用発現のための薬剤の作用点（部位）が既収載品目と大きく異なる	2P
b.	薬理作用発現のための薬剤の標的分子（酵素、受容体など）が既収載品目と異なる	1P
c.	a又はbを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1P
d.	<u>a又はbを満たす場合であって、創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上の有用性が示される</u>	<u>+1P</u>
e.	<u>a又はbを満たす場合であって、同じ疾患領域において、新規の作用機序の新薬が長期間収載されていない</u>	<u>+1P</u>
f.	a又はbを満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床上市に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1P
② 類似薬に比した高い有効性又は安全性（②－1と②－2のポイントの積により算出）		
②－1 高い有効性又は安全性の内容（該当する項目ポイントの合計）		
a.	臨床上市重要な有効性指標において類似薬等に比した高い有効性が示される	1P
b.	重篤な副作用の発現状況など、臨床上市重要な安全性指標において類似薬等に比した高い安全性が示される	1P
c.	a又はbを満たす場合であって、高い有効性又は安全性が臨床上市に著しく有用であると薬価算定組織が認める	+1P
②－2 高い有効性・安全性の示し方（いずれか1つ）		
a.	ランダム化比較臨床試験による（新規配合剤で単剤に対する高い有効性の場合には1P）	2P
b.	<u>その他、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であって、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による</u>	1P
③ 対象疾病の治療方法の改善（該当する項目ポイントの合計により算出）		
a.	既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる	1P
b.	対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる	1P
c.	既存の治療方法に比べて効果が顕著に速く若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い（製剤工夫によるものを除く）	1P
d.	既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される	1P
e.	<u>作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される</u>	<u>1P</u>
f.	<u>患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比した改善が示される</u>	<u>1P</u>
g.	上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める	1P
h.	a～gのいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1P
④ 製剤工夫による高い医療上の有用性（該当する項目ポイントの合計により算出）		
a.	投与時の侵襲性が著しく軽減される	1P
b.	投与の簡便性が著しく向上する	1P
c.	特に安定した血中薬物濃度が得られる	1P
d.	上記の他、特に高い医療上の有用性があると薬価算定組織が認める	1P

※減算規定あり

出所：厚生労働省資料「令和6年度薬価制度改革の骨子」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

2-3. 原価計算方式における加算係数について

前述のとおり、2018年度より原価計算方式にも類似薬効比較方式と同様の補正加算の制度が導入されたが、同時に加算係数の制度も導入された。加算係数とは、医薬品の製品総原価のうち薬価算定組織^{9,10)}に開示できる額の割合（開示度）に応じて0～1の範囲で設定される係数である。原価計算方式で算定された品目が補正加算に該当した場合、評価された補正加算の率にこの加算係数を乗じて計算された値が、実際の薬価に反映される補正加算率となる。つまり、加算係数が0の場合は、補正加算が評価されても薬価には反映されない。こうした加算係数の状況がどのようになっているかを調査した。なお、加算係数の制度は2024年度薬価制度改革においては変更がなかったため、本項目に関しては2024年度前後の比較は行わなかった。

3. 結果

3-1. 算定方式の現状

① 算定方式の割合（年次推移）

2018～2024年度（2024年度は4月、5月、8月の3回分）に収載された新有効成分含有医薬品に用いられた算定方式について、類似薬効比較方式

(I)と原価計算方式の医薬品数とその割合を調査した。その結果、年度によって多少の変動はあるものの、類似薬効比較方式(I)の方が多く、近年は概ね類似薬効比較方式(I)が7割程度、原価計算方式が3割程度となっていた。2024年度の3回分の収載でも類似薬効比較方式(I)が67%（20/30）、原価計算方式が33%（10/30）と昨年度までと同様の割合を示していた（図2）。

② 算定方式の割合（投与形態別の年次推移）

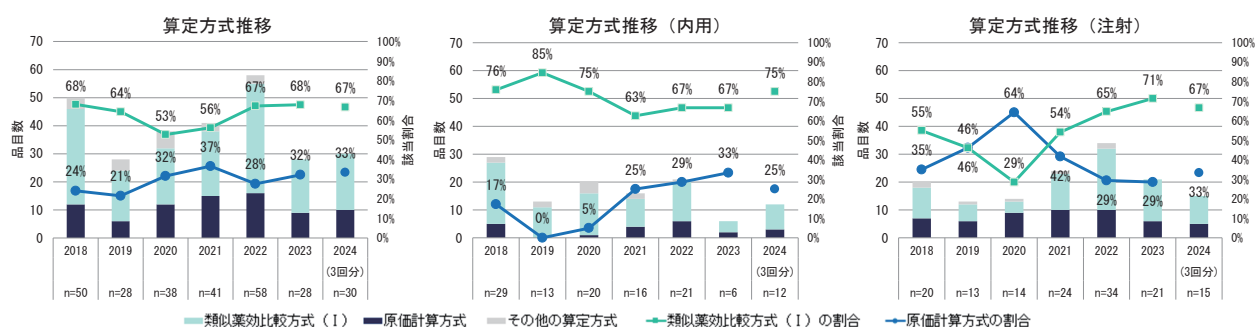
投与形態別に見ると、内用薬では全体と同様に原価計算方式が少ない傾向が継続して認められた一方で、注射薬は原価計算方式が多くなっている時期もある等、投与形態によって異なることが示唆された（図2）。2022年度以降では内用薬・注射薬に関わらず、6～7割が類似薬効比較方式(I)、2～3割が原価計算方式での算定となっており、2024年度薬価制度改革後も同様の水準であった。

3-2. 補正加算等の現状

① 補正加算等の種類と2024年度薬価制度改革の変更点

補正加算の制度は創薬環境の変化や医薬品の価

図2 新有効成分含有医薬品の算定方式の年次推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づきカウント、その他の算定方式は類似薬効比較方式(II)や特例等。

出所：2018～2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

9) 薬価算定組織では新薬の薬価算定について、類似薬の有無、類似薬、最類似薬選定の妥当性、補正加算適用（加算要件への適否）、製品製造原価の妥当性（原価計算方式の場合）、薬価算定案に対する企業の不服意見の妥当性などを検討する。

10) 医薬産業政策研究所、「国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度に向けて」、リサーチペーパー・シリーズ No.83（2024年3月）

値の広がり、また薬事制度の変遷等に合わせて、医薬品の価値を評価する制度として年々拡充されており、2006年に小児加算、2014年に先駆加算、2022年に特定用途加算が導入された(表1)。さらに2024年度薬価制度改革においては、迅速導入加算の新設、有用性系加算の要件の追加(異なる創薬及び製造プロセス、作用機序に基づく限定した患者集団、QOL等の副次評価項目での改善など)、市場性加算や小児加算の加算率の柔軟な運用、特許期間中の薬価に関する加算制度である新薬創出等加算の対象品目の追加など、イノベーションの評価につながる複数の変更があった(表2)。2024年度薬価制度改革以降の収載は4月、5月、8月のまだ3回分ではあるが、現在までに30品目の新有効成分含有医薬品の収載があったことから、以下に補正加算の状況を見る目的で有用性系加算、市場性／小児加算、新薬創出等加算について、動向を暫定的に調査した。

② 有用性系加算の現状

まず、有用性系加算への該当状況を検討した。2018年度以降に収載された新有効成分含有医薬品について、画期性加算、有用性加算(I)、有用性加算(II)に該当した医薬品の割合を類似薬効比較方式

(I)と原価計算方式の算定方式別に調査したところ、すべての有用性系加算の割合は類似薬効比較方式(I)では2018～2023年度は42% (64/153) のところ、2024年4～8月は70% (14/20)、原価計算方式では2018～2023年度は70% (49/70) のところ、2024年4～8月は100% (10/10) となり、2024年度薬価制度改革後に大きく増加した(図3-1左)。特に、有用性加算(I)への該当割合の変化がいずれの算定方式でも顕著であり、類似薬効比較方式(I)では7% (11/153) から20% (4/20)、原価計算方式では14% (10/70) から40% (4/10) に増加した。算定方式別に年次推移を確認すると、有用性系加算全体としては、いずれの算定方式においても2021年度以降に該当品目の割合が増加する傾向がみられ、有用性系加算に該当した品目の割合は2024年4～8月に調査期間中で最も高い値となった(図3-1右、類似薬効比較方式(I): 70%、原価計算方式: 100%)。有用性系加算の中でも加算率が高い画期性加算と有用性加算(I)に該当した品目の割合は、いずれの算定方式でも2023年度から増加傾向が見られ、原価計算方式では2024年4～8月に調査期間中で最も高い該当率となった(図3-1右、類似薬効比較方式(I): 20%、原価計算方式: 50%)。

図3-1 2024年度薬価制度改革の影響：有用性系加算の該当数と割合の推移

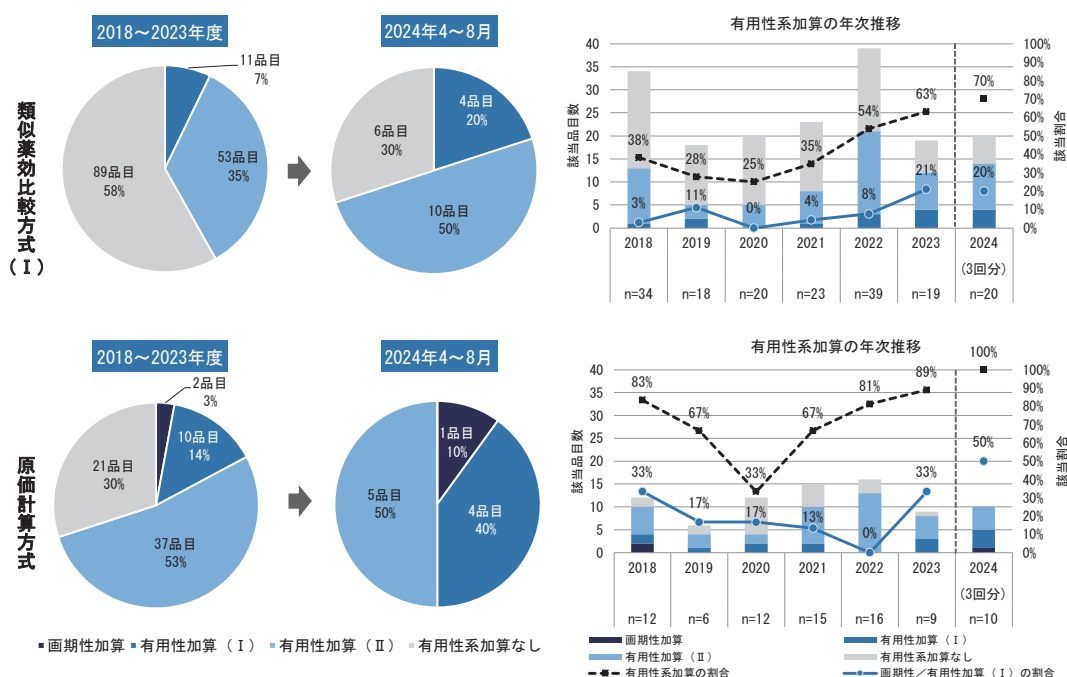
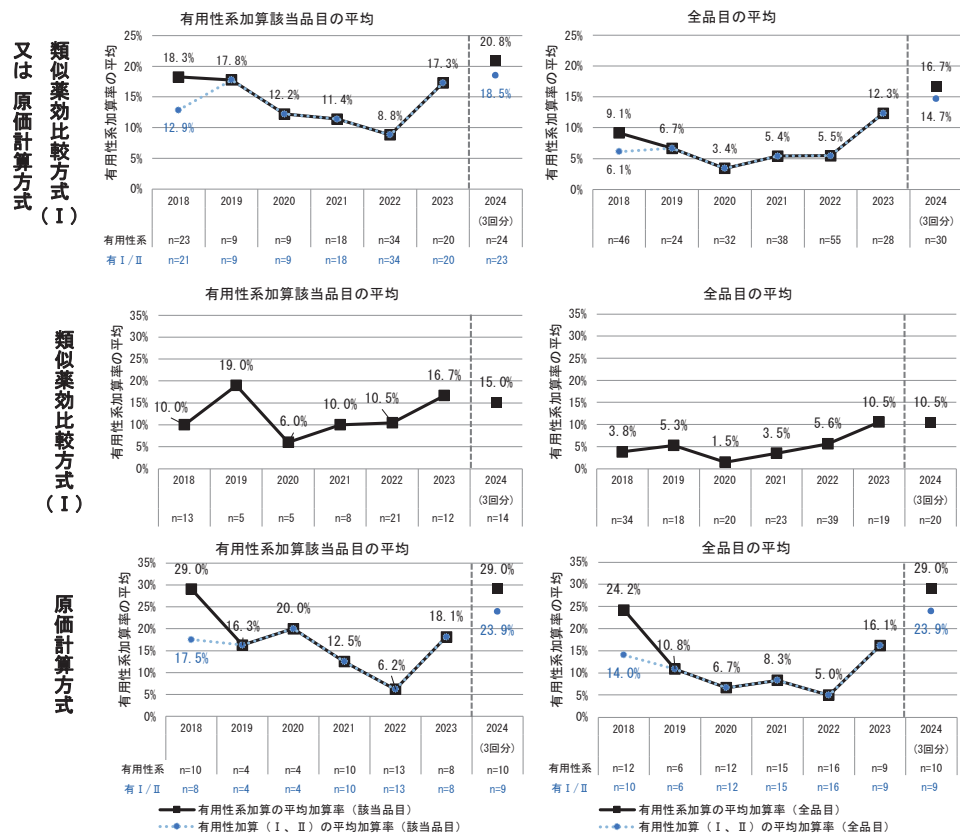


図3-2 2024年度薬価制度改革の影響：有用性系加算の加算率の推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1として、中央社会保険医療協議会総会「新医薬品一覧表」に基づきカウント
 出所：2018～2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

次に、有用性系加算の加算率を検討した。2018年度以降に類似薬効比較方式(I)又は原価計算方式で算定された新有効成分含有医薬品について、有用性系加算の加算率の平均を調査した。有用性系加算該当品目の平均加算率は、画期性加算の該当品目があった2018年度(18.3%)と2024年度(20.8%)では、その他の時期に比べて高めの値を示した。全品目の平均(有用性系加算非該当の品目は加算率0%として計算)と比較すると、2022年度までは10%未満だったが、2023年度に12.3%と初めて10%を超え、2024年4～8月では16.7%と初めて15%超となった(図3-2上)。画期性加算は加算率が特に大きく、該当品目の有無が平均値に与える影響が大きいと、有用性加算(I)(II)の動向を確認する目的で画期性加算を除外した平均値

も調査した。その結果、除外後の平均においても2024年度に調査期間中で最も高い値を示した(図3-2上、破線)。算定方式別に見ると、類似薬効比較方式(I)では2023年度と2024年度は概ね同等の水準である一方、原価計算方式では2023年度より2024年度で高い値を示していた(図3-2中下)。

2024年度薬価制度改革で拡充された有用性系加算の要件については、これまでに①-d(異なる創薬及び製造プロセス)1品目、①-e(対象疾患領域で長期間の新規作用機序の新薬収載がない)1品目、③-f(重要な副次評価項目での改善)2品目の該当事例があった¹¹⁾(表4)。

③ 市場性加算、小児加算の現状

まず、市場性加算、小児加算への該当状況を検

11) 薬価算定組織の議事録公開前(2024年10月1日時点)である等により情報が十分でなく、確定的な判断はできないが、②-2-b(算定組織の判断により、比較試験の実施が困難な難病・希少疾病への考慮が可能となった)も1品目が該当した可能性がある(表3)。

表4 2024年度薬価制度改革で導入された主な制度に該当した事例

2024年度に追加／変更された制度	有用性系加算					市場性加算	小児加算	迅速導入加算	新薬創出等加算	
	要件の拡充					加算率の柔軟な運用	加算率の柔軟な運用	加算の新設	要件の拡充	
	①-d	①-e	②-2-b	③-e	③-f				小児	組成効能製販同一
該当品目	アミヴィッド	レプロゾル	(サルグマリン) ^注	—	ボイデヤ	ゾキンヴィ	エヴキーザ	ボイデヤ	イブグリース	ヒフデラ
	—	—	—	—	シスタドロップス	サルグマリン	アジンマ	アジンマ	ジンタス	—
	—	—	—	—	—	—	セプーロチン	—	ブイタマー	—
該当品目数	1	1	(1) ^注	0	2	2	3	2	3	1
当該加算への全該当品目数に対する割合	16.7～20.8% 4又は5品目／24品目					22.2% 2品目／9品目	42.9% 3品目／7品目	—	14.3% 4品目／28品目	

注：②-2-bも1品目が該当した可能性があるが、薬価算定組織の議事録公開前である等により情報が十分ではなく、確定的な判断はできないため括弧書きとした。

出所：2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

討した。2018年度以降に収載された新有効成分含有医薬品について、市場性加算（Ⅰ）又は（Ⅱ）、小児加算に該当した医薬品の割合を類似薬効比較方式（Ⅰ）と原価計算方式の算定方式別に調査したところ、上記いずれかの加算に該当した割合は類似薬効比較方式（Ⅰ）では2018～2023年度に16%（24/153）だったものが2024年4～8月は45%（9/20）、原価計算方式では2018～2023年度に59%（41/70）だったものが2024年4～8月は70%（7/10）となり、2024年度薬価制度改革前後で大きく増加する傾向が見られた（図4-1左）。市場性加算、小児加算は算定方式によって制約となり得る要件が一部異なることや、市場性加算と小児加算は併算定不可であることから、個々の加算の分析を算定方式ごとに行う際は注意が必要ではある^{1）、12）}が、各加算を見ると類似薬効比較方式（Ⅰ）では市場性加算（Ⅰ）は7%（11/153）から10%（2/20）と微増もしくはほぼ同等の水準であった一方で、小児加算は9%（13/153）から35%（7/20）と増加傾向が見られ

た。原価計算方式では市場性加算（Ⅰ）が52%（36/70）から70%（7/10）と増加傾向がみられた一方で、小児加算は6%（4/70）から0%（0/10）と減少していた（図4-1）。

次に、市場性加算、小児加算の加算率を検討した。2018年度以降に類似薬効比較方式（Ⅰ）又は原価計算方式で算定された新有効成分含有医薬品について、市場性加算（Ⅰ）と小児加算の加算率の平均値を調査した。各加算への該当品目の平均値は、市場性加算（Ⅰ）は2024年度制度改革前まで一貫して10.0%だったところ、2024年度は11.1%と初めて10%超の値を示した（図4-2上左）。また、小児加算については、該当品目が1品目のみだった2020年度を除くと概ね5～6%だった平均値が2024年度では10%となった（図4-2上左）。全品目の平均（市場性加算（Ⅰ）もしくは小児加算非該当の品目は加算率0%として計算）で比較すると、小児加算が2024年度で増加傾向を示し、2024年度薬価制度改革前はいずれの時期も1%未満だった平均値

12) 市場性加算と小児加算は、市場性や小児に関する要件に加え、「比較薬が当該加算又は類似する加算の適用を受けていない」という要件がある。そのため、類似薬効比較方式（Ⅰ）においては市場性や小児に関する要件を満たした医薬品であっても、加算に該当しない場合がある。さらに、小児加算と市場性加算は併算定不可であることから、市場性加算（Ⅰ）と小児加算の個別の割合は算定方式間で一概に比較できるものではなく、考察には注意を要する。なお、比較薬に関する具体的な要件は以下である。

市場性加算（Ⅰ）：比較薬が市場性加算（Ⅰ）の適用を受けていない

市場性加算（Ⅱ）：比較薬が市場性加算（Ⅰ）又は市場性加算（Ⅱ）の適用を受けていない

特定用途加算：比較薬が特定用途加算の適用を受けていない

小児加算：比較薬が特定用途加算（小児の疾病の治療等に係る指定を受けて加算対象となった場合に限り）又は小児加算の適用を受けていない（例外規定あり）

図4-1 2024年度薬価制度改革の影響：市場性加算／小児加算の該当数と割合の推移

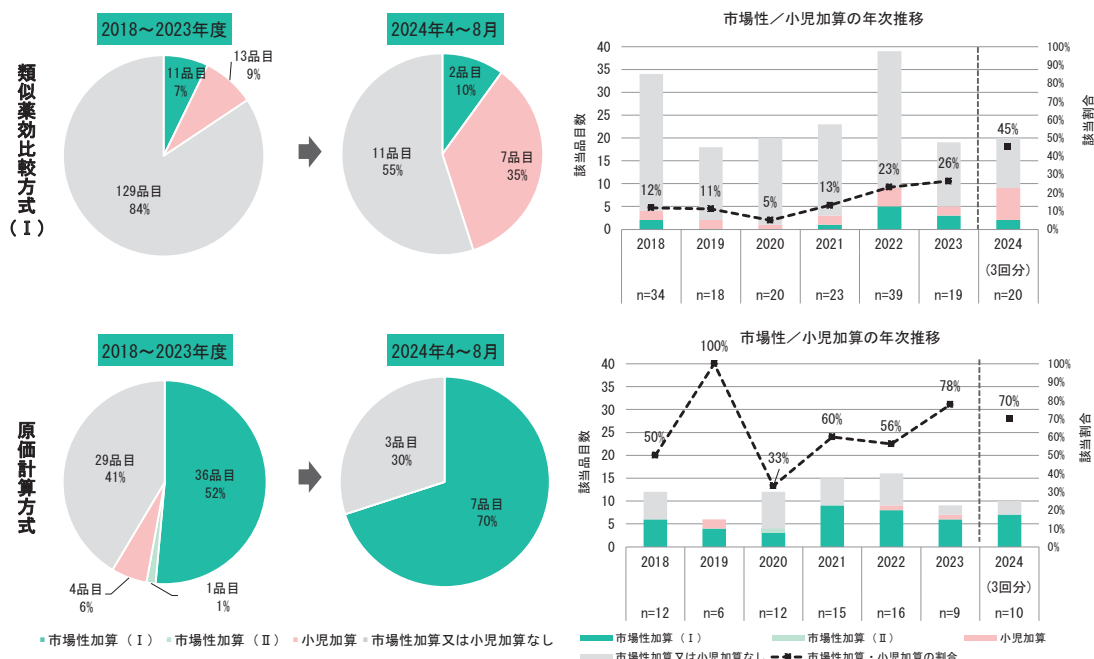
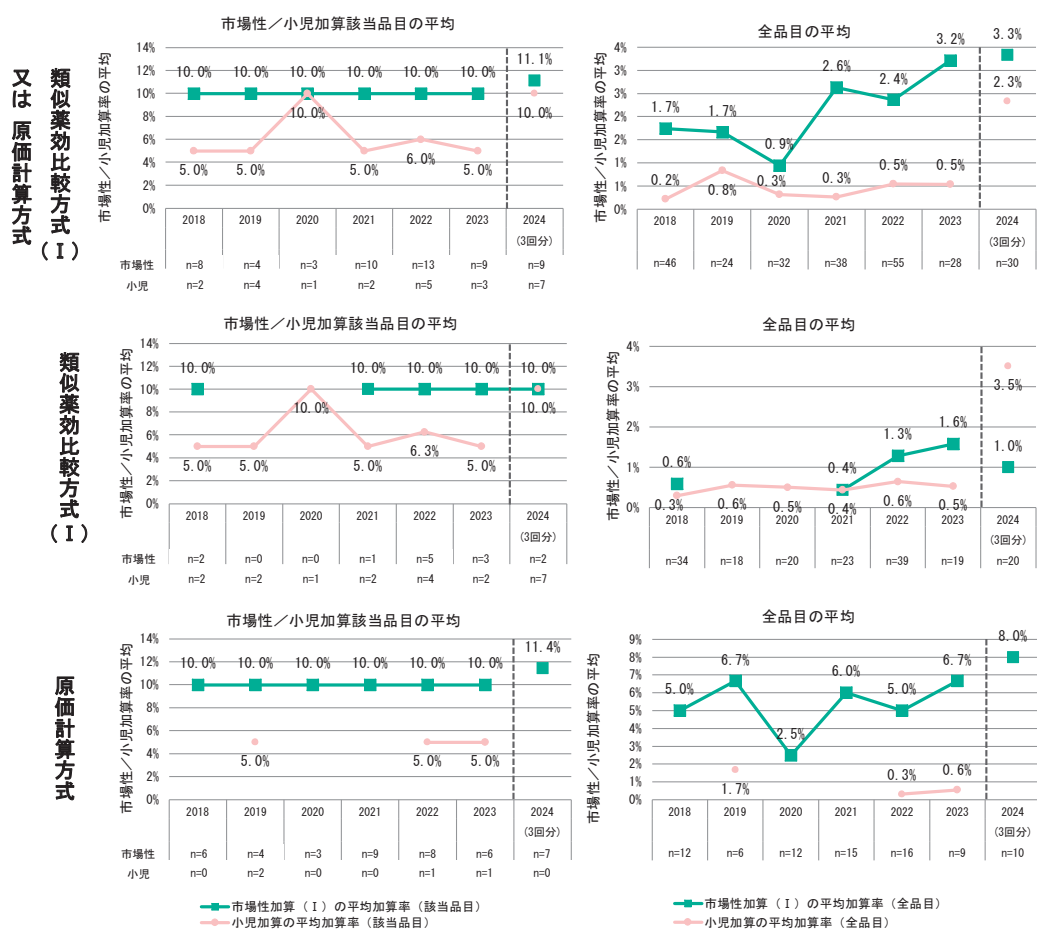
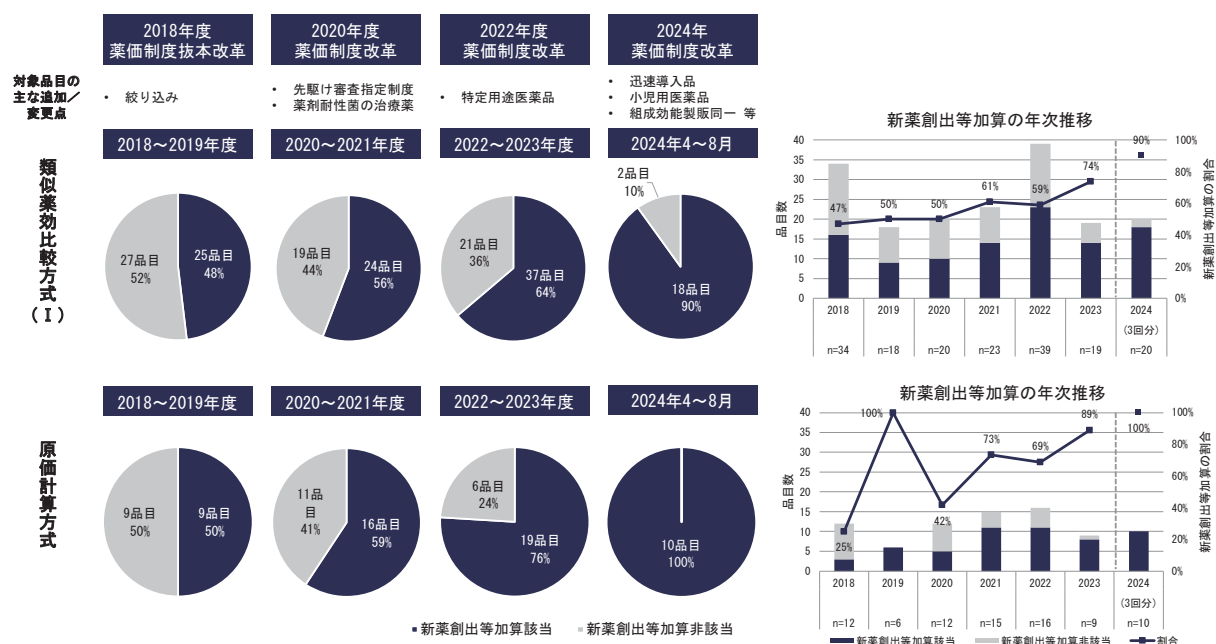


図4-2 2024年度薬価制度改革の影響：市場性加算／小児加算の加算率の推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づきカウント
 出所：2018～2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図5 2024年度薬価制度改革の影響：新薬創出等加算の該当数と割合（薬価制度改革ごと又は年次推移）



注：同一成分かつ同一投与形態は1として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づきカウント
出所：2018～2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

が、2024年度は2.3%と増加した（図4.2上右）。

2024年度薬価制度改革で導入された「加算率の柔軟な運用」に該当した事例は市場性加算(I)9品目中2品目(22.2%)、小児加算7品目中3品目(42.9%)であった(表4)。またその他の加算として、日本への早期導入のインセンティブとしての加算(先駆け加算、迅速導入加算)については品目数が少なく今回は推移の分析までは行わなかったが、2024年度薬価制度改革で新設された迅速導入加算に該当した品目は8月までに2品目あった(表4)。

④ 新薬創出等加算の現状

2018年度以降に類似薬効比較方式(I)又は原価計算方式で算定された新有効成分含有医薬品について、新薬創出等加算に該当した医薬品の割合を調査した。新薬創出等加算は制度改革のたびに対象品目の要件が追加となっていることから、制度改革ごと(2年ごと)の比較を行った。その結果、類似薬効比較方式(I)では48%(25/52)、56%(24/43)、64%(37/21)、原価計算方式では50%(9/18)、59%(16/27)、76%(19/25)といずれの算定方式でも2024年度薬価制度改革前まで10～15

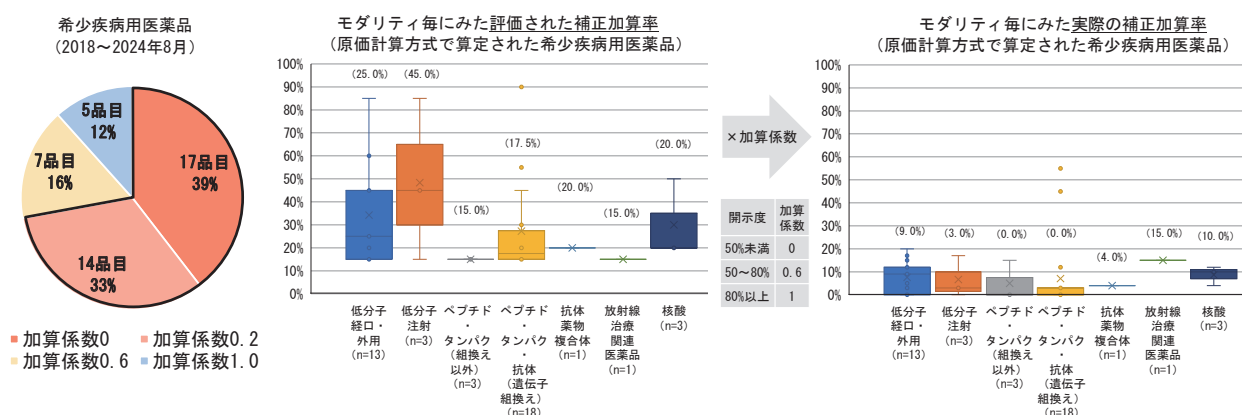
%程度の増加傾向にあったが、2024年度はさらに25%程度増加し、それぞれ90%(18/20)、100%(10/10)であった(図5左)。年次推移でも、例数の少ない原価計算方式で年度ごとのばらつきが大きいものの、いずれの算定方式でも概ね増加傾向にあり、2024年度に調査期間中で最大の値となった(図5右)。

2024年度薬価制度改革で導入された要件が該当した事例は、新薬創出等加算28品目中4品目(14.3%、小児加算：3品目、組成効能製販同一：1品目)であった(表4)。

3-3. 原価計算方式における加算係数の現状

原価計算方式での算定品目において、2018年度より補正加算の制度と同時に導入された加算係数の現状を、医薬品の中でも特にアンメット・メディカル・ニーズの高いものの一つとされる希少疾病用医薬品に着目して調査した。2018年4月から2024年8月までの希少疾病用医薬品の加算係数を調査した結果、約7割が最小の加算係数(2022年4月1日収載までは0.2、それ以降は0)となった(図6左)。次に、希少疾病用医薬品で評価された

図6 原価計算方式における加算係数の現状：希少疾病用医薬品への加算係数の影響



注釈：() 内の数値は中央値

出所：2018年4月～2024年8月に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

加算率と実際の薬価に反映された加算率をモダリティ別に調査した結果、モダリティに関わらず、15～20%以上の補正加算に該当した品目が多い中、実際に薬価に反映された補正加算率はモダリティに関わらず20%以下の品目が多かった（図6中右）。

4. まとめ・考察

本稿では2018年4月から2024年8月までに収載された新有効成分含有医薬品について、補正加算を中心とした算定状況を調査した。算定方式については、年度によって多少の変動はあるものの一貫して類似薬効比較方式(I)の方が多く、近年は類似薬効比較方式(I)が6～7割、原価計算方式が2～3割程度となっていた（図2）。一方で、注射薬では内用薬に比べて原価計算方式の割合が高い傾向があるが、2022～2023年は類似薬効比較方式(I)が6～7割、原価計算方式が2～3割となっており、2024年度も水準に大きな違いは見られなかった。この点は、2024年度薬価制度改革で算定方式の変更はなかった点と矛盾しないと考えられる。

補正加算については、医薬品の価値を評価する制度として創薬環境や薬事制度の変遷等の状況の変化に応じた見直しが行われており、2006年度に小児加算、2014年度に先駆加算（先駆け審査指定制度加算）、2022年度に特定用途加算が導入された。さらに2024年度薬価制度改革においては、顕

在化したドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスへの対応として、有用性系加算の要件追加や迅速導入加算の新設など、イノベーションの評価につながる複数の変更がなされた（表2）。

まだ3回の収載のみではあるが、制度の充実が図られた有用性系加算、市場性加算、小児加算、新薬創出等加算いずれについても、2024年度が調査期間中で最も高い該当率であった（図3-1、4-1、5）。加算率についても、2024年度は高い水準であることがわかった（図3-2、図4-2）。

また、新設された有用性系加算や新薬創出等加算の要件、そして「加算率の柔軟な運用」等の2024年度薬価制度改革の変更点への該当品目がすでにあり（表4）、改革された制度が実際に適用され始めている様子が伺えた。これまでに有用性系加算の新規要件に該当した4品目（有用性加算(I)：2品目、有用性加算(II)：2品目）は、新規要件が制度化されていなかったと仮定した場合も今回該当した有用性加算(I)又は(II)の要件を満たしていた。したがって、2024年度薬価制度改革の有用性系加算への影響は、現時点（2024年8月）では、加算率への寄与が主であり各加算（画期性、有用性（I、II））への該当率への影響は少ない状況が伺える。

一方、年次推移を見ると、補正加算に関する大きな制度変更がなかった昨年度までも各種補正加算が増加傾向を示していたことを踏まえると、評

価されるべき価値を有する医薬品が増えてきている可能性が伺える。新薬創出等加算についても、制度改革毎に該当率が増加している様子が見られたが、例えば、2022年度に対象に追加された「特定用途医薬品」は2024年8月現在までに新薬収載時に該当した品目はないことなどから、2022年度薬価制度改革による該当品目数への影響はないと考えられる。また、2020年度に追加された要件である「先駆的医薬品」「薬剤耐性菌の治療薬」についても、この要件のみで新薬創出等加算に該当した事例がないことが厚労省の資料にも記載されている¹³⁾ことから、昨年度までの制度変更による該当品目数への影響は非常に限定的であると考えられる。以上より、2023年度までに有用性系加算と新薬創出等加算のいずれにおいても該当品目の割合が増加傾向を示していたことは、評価されるべき価値を有する医薬品が増えてきたためである可能性が考えられる。こうした状況の中で、2024年度でも補正加算・新薬創出等加算への該当割合が増加したこと、評価されるべき医薬品の増加に加えて、2024年度薬価制度改革の影響として医薬品のイノベーションがより高く評価されつつある可能性も考えられた。なお、2024年9月25日の中医協薬価専門部会においても、新医薬品として収載された成分に関して、有用性加算の適用状況や、市場性加算／小児加算の実績等の図表を用い、主に前年の2023年度と比べて2024年度で該当数や加算率が増加傾向である旨が事務局より説明された¹³⁾。新有効成分含有医薬品に着目した本稿の調査結果も概ね同様の傾向が見て取れ、矛盾しない結果となった。2024年度はまだ3回分の収載であ

ることから、今後もこうしたトレンドが継続するかどうか、動向を注視したい。

また、今年度新設された迅速導入加算については、近年新設された先駆加算や特定用途加算のような「新たな薬事上の指定制度と一対一で紐づく加算」に比べ、関連する薬事制度が既存の制度、かつ、薬事上の特別措置の中で比較的該当数が多い優先審査¹⁴⁾のみであることから、加算に該当する事例が早期に生じやすい可能性があり、薬価上のインセンティブとして早期に効果が表れやすい特徴があると考えられる。薬事制度に紐づく加算は、その性質上、加算の該当状況が薬事制度の指定状況に依存する。新たな薬事上の指定制度を対象とした加算は、制度導入後に当該指定品目が承認・収載されるまで、つまり新設された加算への該当事例が出てくるまでには一定の期間を要する場合が多く、加算の該当数も当該薬事制度の指定数に依存する。実際に、2015年度から薬事制度が開始した先駆け審査指定制度（現・先駆的医薬品指定制度）を対象とした加算は「先駆け審査指定制度加算（現・先駆加算）」として2016年度に運用が開始^{15、16)}されたが、初めて適用されたのは2018年3月¹⁷⁾である。また加算該当数も、希少疾病用医薬品¹⁸⁾（毎年、10～30成分程度の指定あり）に紐づく市場性加算(I)が毎年10例前後の該当事例があるのに対し、先駆的医薬品（2020年度以降は毎年5成分以下の指定のみ¹⁹⁾）に紐づく先駆加算は、2022年度までは年数品目あったものの2022年5月収載を最後に1年以上事例がない状況となっている。2020年度に薬事制度が開始した特定用途医薬品指定制度（2024年8月までに公表されている指定は

13) 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第227）、「令和7年度薬価改定について①～新薬～」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001307735.pdf>（参照：2024/10/01）

14) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較」、政策研ニュース No.70（2023年11月）

15) 2014年度に新設されていた「先駆導入加算」の要件を変更することで対応された

16) 厚生労働省 平成28年度診療報酬改定説明会（平成28年3月4日開催）資料等について「平成28年度薬価制度改革について」、厚生労働省保険局医療課、<https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-12400000-Hokenkyoku/0000114391.pdf>（参照：2024/10/01）

17) ソフルーザ錠：中央社会保険医療協議会 総会（第390回）、「新医薬品の薬価算定について」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-Hokenkyoku-Iryouka/0000196671.pdf>（参照：2024/10/01）

18) 厚生労働省、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>（参照：2024/10/01）

19) 厚生労働省、先駆的医薬品指定制度について、https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryoku/iyakuhin/tp150514-01_00001.html（参照：2024/10/01）

1品目のみ²⁰⁾を対象とした加算は特定用途加算として2022年度に導入されたが、2024年8月までに新薬収載時での該当事例はなく、改定時の該当事例が1品目という状況である。一方、2024年度に新設された迅速導入加算は、関連する薬事制度は以前から存在する優先審査²¹⁾のみであることから、該当事例が早期に生じやすい可能性が考えられた。実際に、制度改革後の3回目の収載までにすでに2品目が該当している。今後も、薬価上のインセンティブとして導入早期から効果が得られることが期待される。

補正加算の今後の課題の一つとしては、原価計算方式の加算係数が挙げられる。2018年度に原価計算方式で導入された加算係数の制度は、その設定根拠となる開示度とともに妥当性について様々な議論がなされてきた。原価計算方式で算定された品目は、補正加算に該当しても加算係数次第では薬価に反映されないが、今回希少疾病用医薬品に着目して調査した結果、その約7割が最小の加算係数（2022年4月1日収載までは0.2、それ以降は0）であること、さらに補正加算による実際の薬価への影響は限定的であることが示唆された（図6）。また、有用性系加算についても、直近の事例として有用性系加算の中で最も加算率の高い画期性加算への該当品目が2024年5月に6年ぶりにあったが、加算係数が0だったことから合計90%の評価された加算が薬価に反映されなかった²²⁾。これについては、中医協の診療側委員²³⁾から加算係数の制度の在り方に課題感を示す発言もあった。加算係数の設定根拠となる製品総原価の

開示度については以前からその妥当性や向上に向けた施策等が中医協等で議論されてきたが、近年の製薬産業のグローバル化やモダリティの高度化に伴うサプライチェーンの複雑化等により、企業努力に限界が来ている可能性が考えられる²⁴⁾。実際に、開示度向上を目的とした加算係数の制度変更⁸⁾後に開示度が改善されていない状況²⁵⁾を考えると、何らかの別の対策が必要と考えられる。

以上より、補正加算は、医薬品のイノベーションを評価する制度として拡充されてきた中で、加算係数の制度が残る課題となっている様子が伺える。開示度については、2024年度薬価制度改革での変更はなく継続審議となっている（表2）ことから、今後の議論が期待される。

5. おわりに

本稿では、2024年度の3回分の収載情報も含めた最新の新有効成分含有医薬品の薬価算定状況について補正加算を中心に報告した。補正加算は加算係数の課題が残るものの、制度として拡充されてきており、2024年度薬価制度改革においてもイノベーションが評価される方向での変更がなされたこと、そしてその変更が3回分の収載ですでに複数適用され、影響が出始めていることがわかった。一方で、制度変更がない年度の結果等から、評価され得る価値を有する医薬品の割合が増加している可能性も伺われた。以上から、医薬品のイノベーションの適切な評価と革新的新薬の持続的な創出の好循環の実現に向けて、今後の動向に期待がもたれる。

20) 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（参照：2024/10/01）

21) 優先審査とは、希少疾病用医薬品のうち優先審査該当とされたもの、先駆的医薬品、特定用途医薬品等の他、適用疾病が重篤である等の要件に該当する医薬品について優先的に審査される制度である。「『優先審査等の取扱いについて』の一部改正について」（2024年（令和6年）1月16日医薬薬審発0116第2号・医薬機審発0116第2号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・医療機器審査管理課長連名通知）に基づいて厚生労働省が決定する。

22) サルグマリン吸入用：中央社会保険医療協議会 総会（第589回）、「新医薬品の薬価算定について」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001254152.pdf>（参照：2024/10/01）

23) 中央社会保険医療協議会 総会（第589回）、議事録より抜粋「画期性加算の適用対象となったものについては、ある程度の配慮は必要ではないか」、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_41786.html（参照：2024/10/01）

24) 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第209回）、「次期薬価制度改革に対する意見」、日本製薬団体連合会・米国研究製薬工業協会・欧州製薬団体連合会、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001147784.pdf>（参照：2024/10/01）

25) 医薬産業政策研究所、「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」、ポジションペーパー・シリーズNo.3（2024年10月）

英国 NICE における HST の評価結果と ICER の他に意思決定に考慮された要素について

医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓
医薬産業政策研究所 主任研究員 三浦佑樹

要約

- 本稿では、英国 NICE における HST について、医薬品の使用を推奨するための意思決定に考慮された、医薬品の多様な価値を確認するという目的で調査を行った。
- HST の対象となる選定基準は2019年4月時点から変更されており、変更前に比べて厳しくかつ明確な基準となっていた。
- HST の評価ガイダンスにおいて、医療的な価値以外の一つとして Carer（介護者等の QOL への影響）の要素を集計した結果、定量的な ICER への組み込みまたは定性的な意思決定への考慮がされた割合は74%であった。また、定量的に ICER に組み込まれた割合は48%、定性的に意思決定に考慮された割合は44%であった。
- ICER で定量的に評価・補足できない他の要素として、Innovation（イノベーション）や Equity（公平性）はそれぞれ11%、15%と一定数の報告が確認され、HST での適切な価値評価の実態を把握するためには ICER の他に意思決定に考慮された要素の動向を注視する必要がある。

1. はじめに

英国 NICE（National Institute for Health and Care Excellence；国立保健医療研究所）は、製造販売承認を取得した医療技術について、製薬企業から提出された Clinical evidence や Cost effectiveness のレビューに基づいて評価ガイダンスを作成する。評価ガイダンスでは TA（Technology Appraisal；技術評価）という枠組みで、Clinical evidence や Cost effectiveness の結果の他にも様々な要素が考慮され、NICE が作成する推奨事項の中で、NHS（National Health Service；国民保健サービス）での使用を推奨するかどうかの評価される。¹⁾

評価ガイダンスは、対象となる医療技術の適応症の数などによって様々な評価プロセスが設定されており、2015年から HST（Highly specialized technologies；超希少疾病を対象とした医療技術評価）²⁾ が TA の枠組みの中の一つに導入された。政策研ニュース No.67²⁾ は2022年8月までにおいて対象となった21の評価ガイダンスの結果が報告されているが、2024年6月時点では31の評価ガイダンス³⁾ までは報告されている。HST の対象となる選定の基準⁴⁾ として、①対象患者が非常に少ない（英国での有病率が、5万人に1人または、1,100人未満の疾患）、②国で承認された適応症のうち当

1) NICE, Technology appraisal guidance <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Our-Programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance>

2) 医薬産業政策研究所「英国 NICE の HST から見る医薬品の価値評価」政策研ニュース No.67（2022年11月）

3) NICE, Published：Guidance, quality standards and advice <https://www.nice.org.uk/guidance/published?ngt=Highly+specialised+technologies+guidance>

4) NICE, NICE-wide topic prioritisation：the manual <https://www.nice.org.uk/process/pmg46/resources/nicewide-topic-prioritisation-the-manual-pdf-72286839710917>

図1 HSTの選定基準

2019年4月時点	2024年5月時点
①対象患者が非常に少ない (英国での有病率が、5万人に1人または、1,100人未満の疾患)	①対象患者が非常に少ない (英国での有病率が、5万人に1人または、1,100人未満の疾患)
②慢性的で重度の障害を伴う疾患	②国で承認された適応症のうち当該技術に適する患者が300人以下 (複数の適応症を有する場合は、合わせて500人以下)
③治療コストが高額	③生命を著しく縮める、または生活の質を著しく損なう極めて稀な疾患
④生涯にわたって使用される可能性がある	④他に十分な治療法がない、または既存の治療法よりも大きなベネフィットをもたらす可能性が高い

注) ②～④が変更あり

出所：NICE-wide topic prioritisation：the manual⁴⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

該技術に適する患者が300人以下(複数の適応症を有する場合は、合わせて500人以下)、③生命を著しく縮める、または生活の質を著しく損なう極めて稀な疾患、④他に十分な治療法がない、または既存の治療法よりも大きなベネフィットをもたらす可能性が高いことのすべてを満たす必要がある。この選定基準は2019年4月時点から変更されており(図1)、内容としては変更なしの①以外において、厳格化および明確化されていることが伺える。その背景の一つとして、英国の医療財政の逼迫の中で、NHSにおける予算枠の限界といった状況があるのではないかと推察する。また一方で、基準がより明確に定義され、HSTの適格性の解釈がより標準化されたことによって、過去に選定基準の合致をめぐる不服申し立てにつながり患者アクセスの遅れの要因になっていた事例の解消につながっているといった見解もある⁵⁾。

そして、これらの選定基準を満たし対象となった場合は、ICER⁶⁾(Incremental cost-effectiveness ratio；増分費用効果比)の基準(TAでは2万～3万ポンド/QALY⁷⁾)が大きく引き上げられる(10万～30万ポンド/QALY)ことに加え、アプレイザル(総合的評価)の過程で定性的な要素(ICER

で定量的に組み込まれなかった家族の負担や患者の社会参加可能性など)がTAよりも意思決定に考慮され、推奨の判断に加味されることもある⁸⁾。

本稿は、2024年6月6日時点でNICEのwebサイト³⁾に掲載されている評価ガイダンスを対象とし、財政影響がある中でも意思決定に考慮された医薬品の多様な価値を確認するという目的で、医療技術の推奨事項の判断に起因したICER以外の意思決定要素とその傾向を調査した。

2. 調査方法

本稿の対象は、NICEが公開しているwebサイト³⁾に掲載されているすべてのHST評価ガイダンス31件(HST1～31)とし、webサイトにて確認できた27件⁹⁾を調査・集計した(表1)。表1において、Brand name(製品名)は、英国のものを表記している。また、評価ガイダンスにおけるICERおよび新技術が患者の生涯に獲得されるQALYの値に応じて適用される1～3のWeight(重みづけ)を表記した¹⁰⁾。1～3のWeightの適用によって、ICERの基準値が10万～30万ポンド/QALY⁶⁾の間で調整される¹¹⁾。SchemeにはPAS(Patient Access Scheme)、MAA(Managed Ac-

5) Source Health Economics, Rare Disease Day 2022 – how NICE is responding to the growing rare disease therapy space <https://source-he.com/rare-disease-day-2022-how-nice-is-responding-to-the-growing-rare-disease-therapy-space/>

6) 新しい治療(薬)を使用したときにかかる追加のコストを、新しく得られた追加の効果(効用)で割ったもの

7) Quality-adjusted life year(質調整生存年)：TAやHSTの費用効果分析において用いられるアウトカム指標で、生存年数と健康関連QOL(効用値)の積で求めることができる

8) 五十嵐中、「ラクスターナ、英NICEで給付推奨」、間違いだらけのHTA、医療経済 10.1.2019

9) HST2、HST3、HST6の3件はwebサイト上に掲載なし、HST15はHST24として部分的に更新されていたため同一ガイダンスとみなして除外した

10) ICERは、PAS(Patient Access Scheme)により掲載されない場合があり、掲載されていないものは「未掲載」、Weightでは掲載のないものについて「不明」とした

11) NICE, NICE health technology evaluations：the manual N <https://www.nice.org.uk/process/pmg36/resources/nice-health-technology-evaluations-the-manual-pdf-72286779244741> ICE health technology evaluations：the manual

表1 HSTの評価一覧 (HST1～31)

Reference number	Published year	Brand name	ICER (£/QALY)	Weight	Type of recommendation	Scheme	Carer	Innovation	Equity
HST31	2024	Imcivree	174,904	不明	Recommended	PAS	○	△	○
HST30	2024	Kanuma	未掲載	1～3	Recommended	PAS	—	○	△
HST29	2023	Lamzede	103,600	1	Recommended	PAS	○	△	△
HST28	2023	Filsuvez	<100,000	1	Recommended	PAS	○	—	△
HST27	2023	Scenesse	133,748～253,676	1	Not recommended	—	△	—	△
HST26	2023	Upstaza	未掲載	不明	Recommended	PAS	—	△	△
HST25	2023	Oxlumo	<200,000	2	Recommended	PAS	●	○	△
HST24	2023	Zolgensma	未掲載	3	Recommended	PAS	—	—	△
HST23	2023	Strensiq	88,410	不明	Recommended	PAS	○	—	△
HST22	2023	Translarna	未掲載	1	Recommended	PAS	●	△	△
HST21	2022	Imcivree	194,630	不明	Recommended	PAS	●	△	○
HST20	2022	Koselugo	未掲載	1	Recommended	PAS	○	△	△
HST19	2022	Vimizim	<300,000	不明	Recommended	PAS	○	△	△
HST18	2022	Libmeldy	未掲載	不明	Recommended	PAS	●	△	△
HST17	2022	Bylvay	未掲載	1	Recommended	PAS	○	△	○
HST16	2021	Givlaari	>100,000	1.8	Recommended	PAS	◎	○	△
HST14	2021	Myalepta	108,267	1	Recommended	PAS	◎	—	—
HST13	2020	Waylivra	98,013	1	Recommended	PAS	◎	△	△
HST12	2019	Brineura	未掲載	3	Recommended	MAA	●	△	△
HST11	2019	Luxturna	114,956～155,750	1.2	Recommended	PAS	◎	△	△
HST10	2019	Onpattro	80,730～125,256	1	Recommended	PAS	○	△	△
HST9	2019	Tegsedi	96,697	1	Recommended	PAS	◎	△	△
HST8	2018	Crysvita	113,000～150,000	不明	Recommended	PAS	●	△	△
HST7	2018	Strimvelis	120,506	1.4および1.96	Recommended	—	●	△	○
HST5	2017	Cerdelga	未掲載	1	Recommended	PAS	△	—	△
HST4	2017	Galafold	未掲載	1	Recommended	PAS	△	—	△
HST1	2015	Soliris	未掲載	1	Recommended	MAA	△	△	△

注1：HST2、HST3、HST6の3件はwebサイト上に掲載なし、HST15はHST24として部分的に更新されていたため同一ガイダンスとみなして除外した

注2：ICER、Weightの表記における幅のある数値や複数ある数値については、評価ガイダンス上の記載に合わせた

出所：NICEのHST評価ガイダンス³⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

cess Agreement)を表記しているが、内容については後述する。

評価結果として、NHSでの使用が推奨されているか非推奨かをType of recommendedに示した。

また、ICER算出時に用いられるQALYとCostに加えて、評価ガイダンスで報告されている要素として3つ、Carer（介護者等のQOLへの影響）、Innovation（イノベーション）、Equity（公平性）に整理し、Carerは5つ、Innovation、Equityは3つの尺度で表した。ICERの算出に含まれるようなQOL値等の要素は定量的な評価、ICERの算出には含まれない要素を定性的な評価と定義した。定性的な要素のうち、推奨の意思決定の判断

材料となることが明記されているものは意思決定に考慮されたとし、明記されていないものは言及されたと区別した。

Carerについては、評価ガイダンスで定量的にICERに組み込まれてかつ定性的にも意思決定に考慮されたと記載があるものを◎、定量的にICERにのみ組み込まれたものを○、定量的にICERには組み込まれていないものの定性的に意思決定に考慮されたと記載があるものを●、評価ガイダンスで言及はされているが意思決定に考慮されかどうか不明瞭なものを△、評価ガイダンスでは言及がなされていないものを—とし、Innovation、Equityについては、評価ガイダンス

で定性的に意思決定に考慮されたと記載があるものを○、言及はされているが意思決定に考慮されただかどうかが不明瞭なものを△、言及がなされていないものを一とした。

上記におけるこれらの尺度は、評価ガイダンスから読み取れる範囲内で2名の著者が判断し、両者の解釈に乖離があった場合は両者の協議により最終判断をした。

3. 結果

3-1. Type of recommendation(推奨の有無)(図2)

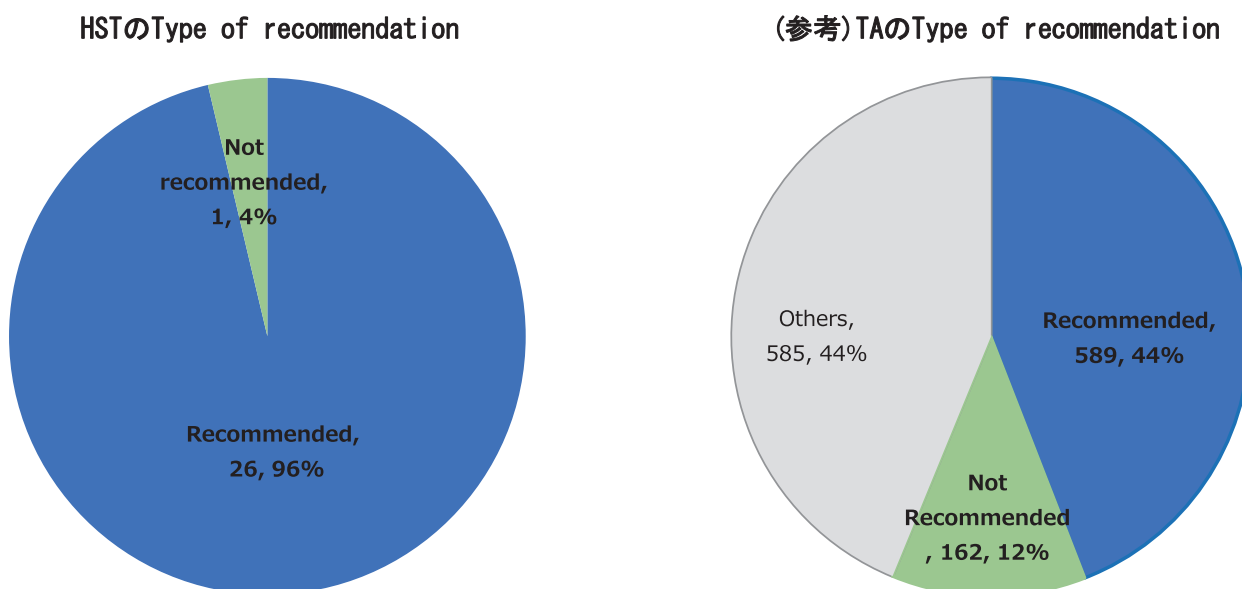
本評価ガイダンスの結果において、HSTでの集計対象27件のうち、Recommended(推奨)が26件(96%)に対して、Not recommended(非推奨)が1件(4%)であった。

参考までに、NICEにおいて一般的に医薬品が評価される枠組みであるTA(2024年8月29日時点)では、全数1336件のうち、Recommendedが589件(44%)に対して、Not recommendedが162

件(12%)という状況であり、両者を比較すると、HSTの方がTAよりもかなり高かった。

また、1件のみ Not recommended であった HST27について、その理由の一つとして PAS の申請がなされなかったことが推察される(本事例はスコットランドの NHS では条件付きで推奨されている¹²⁾)。PASは高額薬剤について製薬企業が申請し、適用が認められた場合には、患者に負担を課すことなく NHS での使用が可能となるものであり、NICEから Not recommended の評価が出た場合でも、製薬企業が PAS の提案をして、PAS が承認されれば、Recommended となるよう価格を割引する仕組みである¹³⁾。なお、27件のうち2件に MAA が締結されていた。MAA は希少疾病など治療効果の不確実性の大きな医薬品について、NICE が期限を切って推奨することで早期アクセスを実現する仕組みであり、PAS も MAA の枠組みの中の一つである¹⁴⁾。PAS および MAA について、表1では Scheme に記載している。

図2 Type of recommendation (推奨の有無)の集計結果



注) Othersには、Optimised(特定用途の治療オプションとしてのみ推奨)、Only in Research(研究調査の枠内に限定)等が含まれる

出所: NICE の HST 評価ガイダンス³⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

12) The British Porphyria Association, SCENESSE[®] update <http://porphyria.org.uk/scenesse-updates/>

13) 健保連海外医療保障 No.113 2017年3月 https://www.kenporen.com/include/outline/pdf_kaigai_iryu/201703_No113.pdf

14) 医療経済研究機構 令和5年度薬剤使用状況等に関する調査研究報告書 医療経済研究機構(令和6年3月)

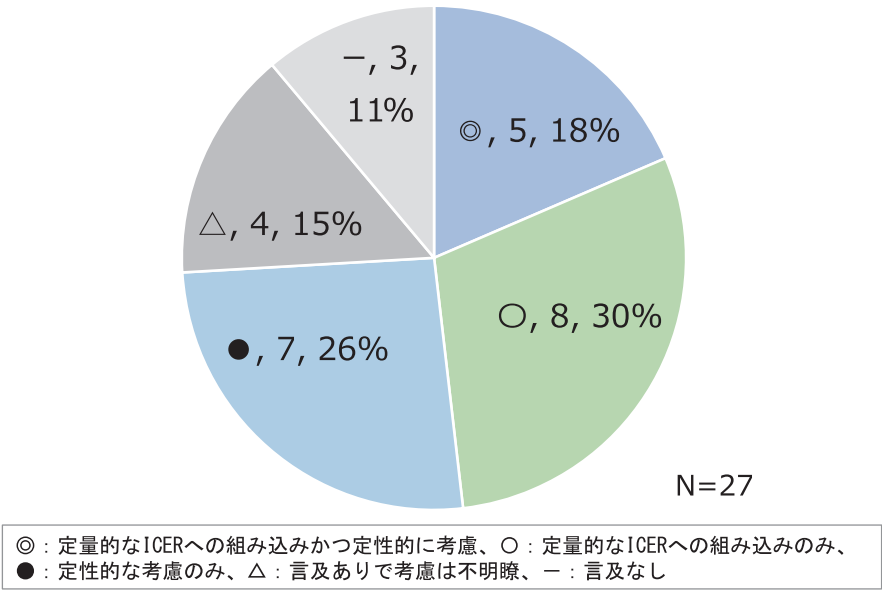
3-2. Carer（介護者等の QOL への影響）（図 3）

Carer に関して、集計対象27件のうち、評価ガイダンスで定量的に ICER に組み込まれてかつ定性的にも意思決定に考慮されたと記載があるものは5件（18%）であり、定量的に ICER にのみ組み込まれたもの（定性的な意思決定の考慮はなし）は8件（30%）であった。

また、定量的に ICER には組み込まれていないものの定性的に意思決定に考慮されたと記載があ

るものが7件（26%）であり、評価ガイダンスで言及はされているが意思決定に考慮されたかどうか不明瞭なものが4件（15%）であった。そして、評価ガイダンスで言及がなかったものが3件（11%）という結果となった。さらに細分化した集計結果（図 4）は後述する。

図 3 Carer（介護者等の QOL への影響）の集計結果



出所：NICE の HST 評価ガイダンス³⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

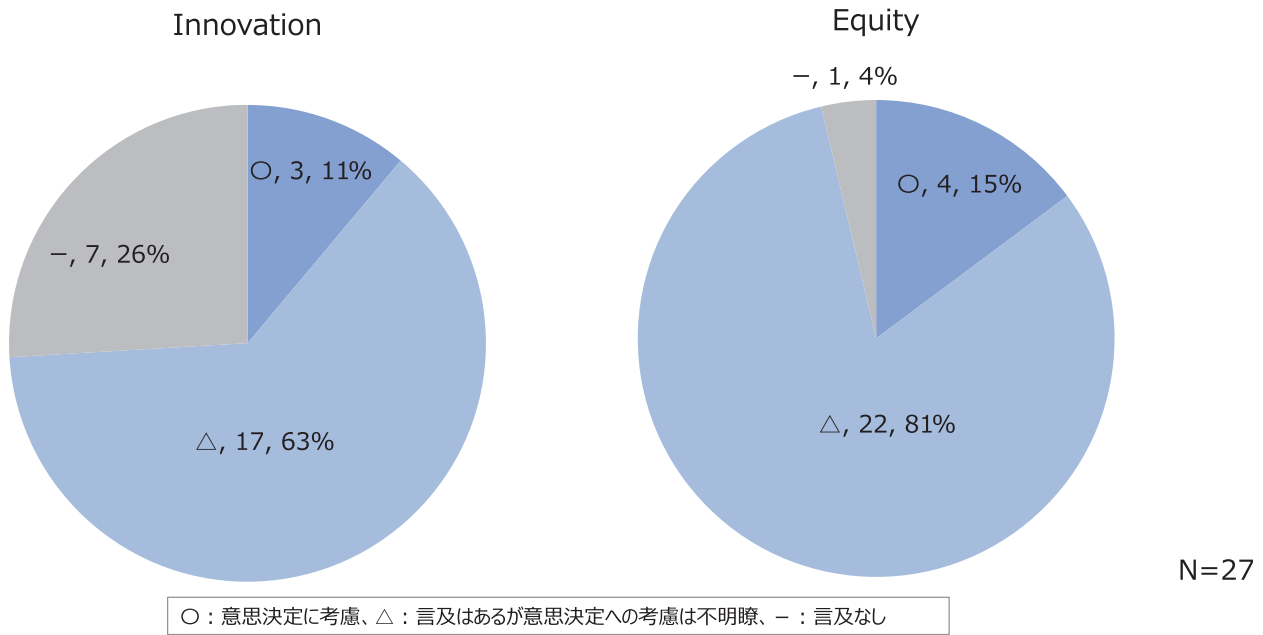
図 4 Carer（介護者等の QOL への影響）の細分化した集計結果

n=27	◎ (n=5)	○ (n=8)	● (n=7)	△ (n=4)	- (n=3)	件数	割合
定量的なICERへの組み込み または 定性的な意思決定への考慮 もしくは言及						24	89%
定量的なICERへの組み込み または 定性的な意思決定への考慮						20	74%
定量的なICERへの組み込み ※定性的な意思決定への考慮の 有無に関わらない						13	48%
定性的な意思決定への考慮 ※定量的なICERへの組み込みの 有無に関わらない						12	44%

◎：定量的なICERへの組み込みかつ定性的に考慮、○：定量的なICERへの組み込みのみ、●：定性的な考慮のみ、△：言及ありで考慮は不明瞭、－：言及なし

出所：NICE の HST 評価ガイダンス³⁾をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図5 Innovation（イノベーション）、Equity（公平性）の集計結果



出所：NICE の HST 評価ガイダンス³⁾ をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3-3. Innovation（イノベーション）、Equity（公平性）に関する結果（図5）

HSTの集計対象27件のうち、Innovationに関する評価として、定性的に意思決定に考慮されたと記載がある事例として3件（11%）、評価ガイダンスで言及はされているが意思決定に考慮されたかどうか不明瞭な事例が17件（63%）、評価ガイダンスでは言及がなされていない事例が7件（26%）あった。Equityについては、定性的に意思決定に考慮されたと記載がある事例は4件（15%）、評価ガイダンスで言及はされているが意思決定に考慮されたかどうか不明瞭な事例が22件（81%）、評価ガイダンスでは言及がなされていない事例が1件（4%）確認できた。

4. まとめ・考察

4-1. Type of recommendation(推奨の有無)(図2)

TAとHSTにおけるRecommendedの割合を比較すると、TAが44%に対して、HSTが96%であり、HSTはTAよりも割合としてかなり高い傾向があった理由として、HSTで評価された場合、ICERの基準値が大きく引き上げられることに加え、アプライザルの過程で定性的な要素（家族の負担や患者の社会参加可能性など）がTAよりも

意思決定に考慮され、推奨の判断に加味されることもある⁸⁾ことが影響していると推察される。

4-2. Carer（介護者等のQOLへの影響）(図4)

HSTの集計対象27件のうち24件（89%）という高い割合で、Carerの要素に対する定量的なICERへの組み込みまたは定性的な意思決定への考慮、もしくは言及がなされていた。

そのうち20件（74%）においては、定量的なICERへの組み込みまたは定性的な意思決定への考慮がされており、高い水準であった。

また、細分化した切り口で見ると、定性的な意思決定への考慮の有無に関わらず定量的にICERに組み込まれた割合は48%、定量的なICERへの組み込みの有無に関わらず定性的に意思決定に考慮された割合は44%という結果であった。

Carerの要素が、高い割合で定量的なICERへの組み込みまたは定性的に意思決定に考慮されていた理由の一つとして、Carerの要素は、NICEのマニュアルの中で「患者やその介護者にとって重要となる健康関連QOLは費用効果分析に含めてもよい」とされている点があげられる¹¹⁾。また、HSTの選定基準にもあるとおり、重度の障害を伴う疾患が多い点や小児の疾患においては高い頻度

において親の看護が伴うといった点等、より顕在化しやすい要素であることが推察される。加えて、Patient experts¹⁵⁾ やClinical expertsの意見も十分に検討のうえ、社会的便益のある要素は意思決定に考慮されているケースも少なくない。例えば、HST17の事例において、介護に伴う時間の負担（労働時間の減少や介護のため長期間の休みを必要とすること）、経済的な負担、通院回数についてのコメントが明記されており、薬物治療によりこれらの負担が軽減する可能性が認められ、意思決定に考慮されたことが報告されている²⁾。

4-3. Innovation（イノベーション）、Equity（公平性）（図5）

Innovation の要素は、技術的な観点だけでなく患者にもたらすベネフィットの大きさを評価するもの¹⁶⁾ であり、例えば、患者のアドヒアランスが向上するような剤形の工夫や治療ニーズが高いような疾患に対する治療法の確立、新しい作用機序を有する薬剤の登場は、治療選択肢を増やし、治療満足度を高めるためには非常に重要な要素である。今回の結果においてInnovationを定性的に意思決定に考慮した事例は、3件（11%）であったが、言及はされつつも意思決定に考慮されているかは不明瞭であった事例も含めると20件（74%）であった。具体的には、HST25では「当薬剤による治療が病気の進行を防ぎ、腎結石処置の回数を減らし、透析や移植の必要性を減らすことができる」という点を評価し、意思決定に考慮した」と定性的な意思決定への考慮が明記されていた¹⁷⁾。こうした処置や手術等の侵襲的治療の回避といった患者にとってのベネフィットというものが、Innovation の要素としてICERとは別に医療技術の価

値としての確に意思決定に考慮されていることが確認できた。

Equity の要素は、「貧富に関わらず、一定水準の医療を受ける権利は保証されるべきである¹⁸⁾」とされているが、最近の「ISPOR（International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research）2024」の学会報告においても、経済格差が健康被害に繋がるという課題等についての発表がなされている¹⁹⁾。費用効果分析の結果を保険償還可否の判断の1要素として使用している英国においても、超希少疾病に対する優れた医薬品への早期のアクセスを確保するためにも優先されるべき要素の一つとして重要視されてきているのではないかと推察する²⁰⁾。今回の結果でEquityが定性的に意思決定に考慮された事例は、4件（15%）であったが、言及はされつつも意思決定に考慮されているかは不明瞭であった事例も含めると26件（96%）であった。例えば、HST31では「当該疾患に関して、黒人、アジア人、その他の少数民族の背景を持つ人々は、白人の民族的背景を持つ人々よりも低いBMI基準値で心代謝系の健康リスクが増加するが、当薬剤は民族に関係なく等しく適用される」と結論付け、Equityの要素として意思決定に考慮されている事例²¹⁾があった。

Innovation の要素、Equity の要素ともにCarerの要素に比べると割合は少ないが、ICERでの定量的な評価の他に定性的な意思決定の要素として一定数が考慮されている点は重要であると考え

また、本稿の表1では記載をしていないが、評価ガイダンスにおいて、Other factors（その他の要素）の要素として、例えばHST11では「小児の視力維持に関連して捉えきれていないベネフィッ

15) NICE の web サイト上において、Patient experts は HST 評価の議論に参加し、評価中の治療（薬）に関する患者の経験について回答する役割を有する者と掲載

16) 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No.76（2021年3月）

17) NICE, Lumasiran for treating primary hyperoxaluria type 1 <https://www.nice.org.uk/guidance/hst25>

18) 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No.79（2022年3月）

19) ISPOR 日本部会ニュースレター No.15 (https://ispor-jp.org/wp-content/uploads/2024/07/ISPOR_NL15.pdf)

20) PhRMA ホームページ (<https://www.phrma-jp.org/hta/>)

21) NICE, Setmelanotide for treating obesity and hyperphagia in Bardet-Biedl syndrome <https://www.nice.org.uk/guidance/hst31>

トがかなりあり、意思決定において定性的に考慮した」といった Uncaptured benefits として考慮されているという事例²²⁾があり、こうした例はまだごく少数ではあるが、NICE の意思決定要素として重要視する傾向があることを読み取ることができ、ICER での定量的な評価に定性的な要素を考慮して補完するという NICE のアプレイザルの特徴の表れであると推察される。

5. おわりに

本稿は、2024年6月6日時点でNICEのwebサイト³⁾に掲載されているHSTの評価ガイダンスを対象とし、医療技術の推奨事項の判断に起因したICER以外の意思決定要素とその傾向を調査した。

HSTの評価ガイダンスにおいて、医療的な価値以外の一つとして Carer の要素がICERでの定量的な評価または定性的に意思決定に考慮がされた割合は74%と高い水準にあった。これは、HSTの

対象となる疾患が非常に重篤な疾患であるため、より顕在化しやすい要素であると考えられる。

また、ICER では定量的に評価・補足できない他の要素として、InnovationやEquityはそれぞれ11%、15%と一定数の報告が確認され、医療技術の価値を適切に評価するためにはICER以外の要素を検討する重要性が上述した評価ガイダンスのいくつかの事例でも示唆された。

今回の調査結果により、英国のHSTという選定基準を満たした極めてアンメットメディカルニーズの高い疾患についてはあるものの、臨床試験から得られる有効性や安全性、医療経済性の観点の他に社会的に便益をもたらす要素も含めて、医薬品の多様な価値として意思決定に考慮のうえ評価されている傾向が確認された。医療財政が逼迫する中でもHSTにおける革新的な医療技術の適切な価値評価の実態を把握するためには、ICERの他に意思決定に考慮された要素の動向を注視する必要があると考える。

22) NICE, Voretigene neparvovec for treating inherited retinal dystrophies caused by RPE65 gene mutations <https://www.nice.org.uk/guidance/hst11/chapter/4-Consideration-of-the-evidence>

医療情報の利活用がもたらす波及効果

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

- 日本では現在、全国医療情報プラットフォームの構築が検討されており、医療の最適化、健康増進・公衆衛生の向上、イノベーションの促進という3分野に波及効果が期待されると考えられる。
- 実際に、海外では医療情報の一元的な管理や二次利用によって、患者ケアの効率化や公衆衛生の改善、さらには研究開発の進展が報告されている。
- 欧州のEHDSは、日本の構想にも有益な示唆を提供しており、EHDSの影響評価報告書では、その導入が生む長期的な経済的利益が定量的に評価されており、導入コストに対する十分な利益が見込まれている。
- 日本においても、医療情報の利活用による社会的効果や経済的利益を示すことで、全国医療情報プラットフォームへの投資の合理性を明確にし、国民の理解と納得を得ると同時に、多様なステークホルダー間での合意形成を促進することが期待される。

1. はじめに

現代の医療は、情報技術の進展とデータ分析の高度化によって大きな変革が生じている。電子カルテ、ゲノムデータ、臨床試験データ、ウェアラ

ブルデバイスや健康アプリから得られるデータ等、多様な医療情報が日々膨大な量で収集され、医療のあらゆる分野で重要な役割を果たしている。この膨大なデータの効果的な活用は、医療分野全体にわたる革新的な変化だけでなく、広範な社会的波及効果をもたらす可能性を秘めている。

日本においては、高齢化社会の進展に伴い、医療費の増加や医療提供の地域偏在、医療従事者の負担増といった問題が顕在化する中、データを活用した効率的な医療提供や医療の質向上も求められている。こうした複雑で多面的な課題に対処するためには、従来の分散型で個別に管理されるデータの運用では限界があり、より統合されたデータ基盤を通じて、広範な情報を活用することが求められている。その一環として、現在、日本国内では、全国医療情報プラットフォーム¹⁾の構築が検討されている。このような大規模なシステムの導入には、技術的・制度的課題や高額な投資が必要となるため、それらの投資によって社会全体にもたらされる効果や、導入を行わないことによる損失の評価が重要となる。

国外の動きに目を向けると、欧州が進める European Health Data Space (EHDS)²⁾の構想が先進的な事例として注目されている。欧州委員会が作成した影響評価報告書³⁾では、導入に先立ち、

1) 内閣府、「経済財政運営と改革の基本方針2022について」、https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2022/2022_basicpolicies_ja.pdf

2) European Commission, European Health Data Space, https://health.ec.europa.eu/ehealth-digital-health-and-care/european-health-data-space_en

3) European Commission, Impact Assessment on the European Health Data Space, https://health.ec.europa.eu/publications/impact-assessment-european-health-data-space_en

EHDS がもたらす社会的および経済的影響が事前に詳細に評価され、経済的効果が金銭的に換算された結果、長期的には初期投資や運用コストを上回ることが示されている。日本においても同様に、全国医療情報プラットフォームの構築に際して、事前の影響評価を行い、導入による経済的利益を試算することは、政策立案者にとって意思決定の根拠となり得る。これにより、初期投資や運用コストに対する支援の妥当性が示されるだけでなく、これらの情報を基に適切な支援策の整備や基盤構築が進むことにより、プラットフォームの導入促進につながると考えられる。また、こうした評価を通じて、多様なステークホルダーが医療情報の利活用に対する理解を深め、より積極的な活用が期待される。

本稿では、EHDS の影響評価報告書の一部を紹介し、日本における全国医療情報プラットフォームの構築に向けた動きを踏まえ、医療分野にとどまらず、より広範なステークホルダーにどのような範囲で、どのような影響を及ぼすかを整理する。これにより、国内における医療情報の利活用に向けた議論を一層促進し、導入に伴う課題やリスクを含めた総合的な分析を進める中で、将来の定量的な分析に向けた土台を整えることを目指す。

2. 国内の医療情報共有による波及効果

現在、日本においては大規模な全国医療情報プラットフォームの構築が検討されている⁴⁾。

全国医療情報プラットフォームとは、「オンライン資格確認等システムのネットワークを拡充し、レセプト・特定健診等情報に加え、予防接種、電子処方箋情報、自治体検診情報、電子カルテ等の医療（介護を含む）全般にわたる情報について共

有・交換できる全国的なプラットフォーム」とされ、医療 DX 推進の一環として進められる¹⁾。公表されている構想では、他の医療機関等と患者の情報を共有する医療情報基盤を、介護情報基盤や行政・自治体情報基盤とも連携を行うことが想定されており、この基盤で共有される情報を二次利用することも視野に入れられている。これらの構想を実現するためには、初期投資や制度の改革が必要となるが、本項では、それらの妥当性を評価するために整理すべき事項の一部として、全国医療情報プラットフォームが構築され、それらが一次利用に加えて二次利用された際に生じると想定される波及的な影響の範囲を広範な視点で整理する。今回は、これまで学術的に報告されている内容の整理を目的とし、医療機関の間での医療情報の交換（HIE：Health Information Exchange）に関して言及している論文を複数の検索サイト又は各論文の引用・被引用論文を用いて調査した。それらの中から、医療情報の一次利用又は二次利用で生じる利益に関して言及している論文^{5、6、7、8、9)}を抽出した。論文内で、言及されている内容や頻度を基に総合的に整理すると、想定される影響の範囲の大部分は、「医療の最適化」、「健康増進・公衆衛生の向上」、「イノベーションの促進」の3分野に大きく区分されると考えられる。今回の整理に含めた影響の範囲は、医療情報の共有だけで実現可能となるものには限定しておらず、実現のためには、医療情報基盤の構築だけでなく、システムへの投資や各ステークホルダーの協力、個人情報保護等の制度設計等が必要となることには留意が必要となる。関連論文の整理をもとに、全国医療情報プラットフォームの基盤整備と並行して、医療情報の利活用に向けた医療 DX へのシステム

4) 厚生労働省、第4回「医療DX令和ビジョン2030」厚生労働省推進チーム）資料2-2、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_34874.html

5) Batko K, Slezak A. The use of Big Data Analytics in healthcare. *J Big Data*. 2022 ; 9(1) : 3.

6) Liang H, Mengqi L, Ruixue W, et al. Big data in health care : Applications and challenges. *Data and information management*, 2018, 23 : 175-197.

7) Safran C, Bloomrosen M, Hammond WE, et al. Toward a national framework for the secondary use of health data : an American Medical Informatics Association White Paper. *J Am Med Inform Assoc*. 2007 ; 14(1) : 1-9.

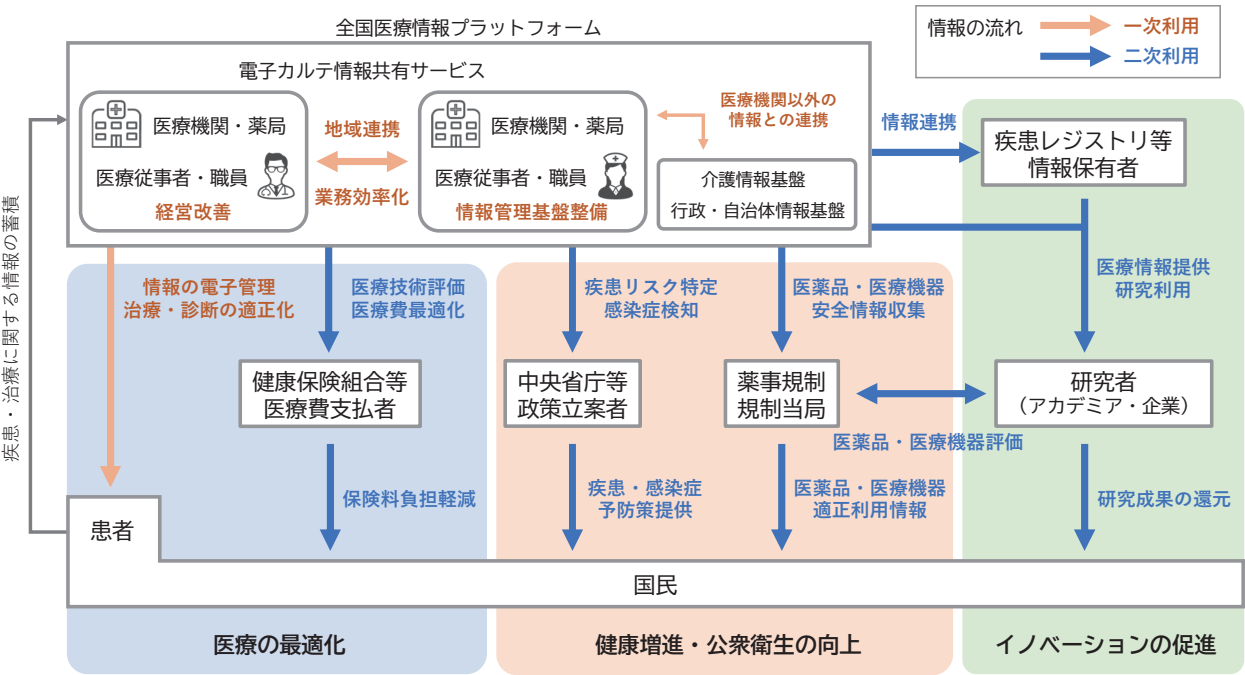
8) Martin-Sanchez FJ, Aguiar-Pulido V, Lopez-Campos GH, Peek N, Sacchi L. Secondary Use and Analysis of Big Data Collected for Patient Care. *Yearb Med Inform*. 2017 ; 26(1) : 28-37.

9) Dimitrov DV. Medical Internet of Things and Big Data in Healthcare. *Healthc Inform Res*. 2016 ; 22(3) : 156-163.

投資や関連する規制の改革等が進むことを想定した際に生じると考えられる波及効果の広がりを図1として示し、それぞれのステークホルダーが享受すると想定されるメリットを表1にまとめ

た。
まず、医療の最適化については、主に情報の一次利用による情報を提供した患者自らの治療・診断の適正化と、二次利用による医療技術の発展や

図1 全国医療情報プラットフォームの構築により想定される波及効果



出所：複数の文献情報の記述を基に医薬産業政策研究所にて作成

表1 各ステークホルダーにおいて想定される影響

ステークホルダー	大項目	想定される内容
医療機関・薬局 介護事業者	業務効率化	電子化による事務負担の軽減、高リスク患者の検知
	地域連携	施設間の医療情報の共有の電子化、重複検査の削減
	経営改善	電子化情報の分析による医療資源活用の効率化
	情報基盤整備	IT システムの標準化によるシステム運用の簡易化
医療従事者・職員	業務効率化	職員間の情報共有コストの削減、文書作成支援システムの開発
	最適な医療の提供	既往歴や薬剤服用歴等の他院における治療経過の入手
患者	疾患管理	重複検査、禁忌薬投与リスクの解消、医療情報の自己管理
	治療の主體的な選択	セカンドオピニオンへの情報共有、主體的な疾患の把握
医療費支払者	医療費の最適化	医療技術の評価による医療費の適切な配分
政策立案者	保健衛生の実態把握	疾患の発生リスクの分析、社会保障の適切な配分
	公衆衛生政策の立案	疾病・感染症の早期検知、感染症発生時の政策的な対応
薬事規制当局	医薬品・医療機器の評価	医薬品・医療機器の審査時の付加的な情報源として利用
	安全性情報の検知	安全性情報の早期検知、副作用発生時の対応策の検討
情報保有者	自社アセットの価値最大化	大規模医療情報との連携による自社情報の精緻化
研究者（アカデミア）	研究内容の深化	利用可能な情報の量と種類の増加による研究の発展
研究者 （製薬・医療機器企業）	医薬品・医療機器開発の効率化	国内における治療実態の理解とニーズの把握
	安全性情報の検知	市販後の臨床試験で検知出来なかったリスクの早期検知
国民	国内の医療環境の向上	医療の質向上、健康状態の自己管理、保険料負担の軽減

出所：複数の文献情報の記述を基に医薬産業政策研究所にて作成

個別化医療の発展、費用対効果評価の精緻化によって見込まれる医療費財源の効果的な配分を大きな影響として整理できる。医療機関や介護事業者、医療従事者の視点で考えると、医療記録、介護記録の電子化や情報の管理基盤が形成されることによる事務負担の軽減と、ITインフラの整備による業務効率化、集積した情報の分析による適切な医療・介護サービスの提供が代表的なメリットであると考えられる。さらに、医療情報が他の医療機関等との共有が可能となることに伴い、地域医療における医療資源の効率的な活用や、重複する検査の削減に繋がることが期待される。これらの医療情報の利活用は、医療機関のコスト削減や収益向上に貢献する一助となることが想定され、他の業務改善との相乗効果により継続的に医療が提供される環境の整備に繋がることが期待される。患者の視点で考えても、上記の医療機関や医療従事者に生じるメリットに伴って地域で利用できる医療機関が存続し、最適な医療を継続して受けることが可能となる。また、マイナポータルを經由して、自身の保健・医療情報へのアクセスが可能になることは、自身の健康状態を把握し、健康管理や疾病予防に役立てることや、より迅速に適切な治療へアクセスできることにも繋がると考えられる。医療費の支払者の視点では、医療技術の評価に利用できる情報が増加することで、より精緻な分析が可能となることにより医療サービスの経済的な適正化がより一層進むことが期待される。高齢化に伴う現役世代の社会保障負担の増加が課題となっており、医療費の適切な配分が可能となれば、保険料を負担する国民の負担軽減にも繋がると考えられる。

次に、健康増進・公衆衛生の向上については、集積した情報の分析が、疾患発生の傾向や感染症流行の検知、医薬品や医療機器の有害事象の検知に繋がると考えられる。これは、政策立案者や規制当局等の視点で有効に働くものであり、これらの情報に基づいて、国民の健康増進やリスクに対する啓発や対策を迅速に行うことが可能となる。このような、国家的な対応としては、新型コロナウイルス感染症での感染者数の把握やワクチンの

公費負担など、情報に基づいた意思決定が求められたことが記憶に新しい。国の危機管理の側面においても、医療情報を包括的に収集できる仕組みがあることは大きなメリットとなる。

最後に、イノベーションの促進については、大学や民間企業の研究者の視点では、これまで膨大な時間と労力を要して入手していた医療情報へのアクセスが容易になることが最も大きいメリットとなる。患者に由来する情報は、生命科学の研究において非常に重要な役割を果たし、特に医薬品や医療機器の開発では、既存の医薬品や医療機器の治療成績や使用実態を把握することは、新製品の開発や既存製品の改良において非常に重要となる。さらに、昨今の人工知能の実用化に伴い、より大規模な情報を扱い、精度の高い解析結果を導くことが可能となりつつある。これらの情報へのアクセスが容易になることは、より短期間で正確な結論を導くことに繋がり、新しい医薬品や医療機器の早期の市場導入が可能となると考えられる。また、これらの研究に日本人の情報が利用できることによって、より国内での診療現場の実態に即した開発が行われることも国民にとってのメリットに繋がる。疾患レジストリやバイオバンク等の既存の研究用の情報保有者の視点では、自組織が保有する情報と連携できるような基盤や制度の整備を行うことが可能となれば、これまで自組織で全収集する必要があった医療情報の一部を国家的な基盤から利用することが可能となり、自組織が保有する情報の価値向上に繋がり、利用者が増加することが見込まれる。これらの研究開発を目的とした詳細な生体・医療情報を収集する組織の経済状況が安定することにより、さらに多くの情報を収集することが可能となり、イノベーションの観点ではより望ましいサイクルが生じることが期待される。

このように全国医療情報プラットフォームの構築と共に医療 DX へのシステム投資、規制の改革が進むことは、医療機関の従事者や患者に直接的な利益をもたらすだけでなく、総合的に多くのステークホルダーを經由し、最終的に全ての国民に大きな利益をもたらすことに繋がると考えられ

る。

3. 具体的事例に見る医療情報の利活用

前項では、全国医療情報プラットフォームがもたらすと考えられる波及効果を、医療の最適化、健康増進・公衆衛生の向上、イノベーションの促進という3分野に分類して整理した。これらの効果は、日本社会において幅広い恩恵をもたらすことが期待されるが、現段階では国内における事例に限られているため、具体的な波及効果を示す事例を海外に求めて整理した。本章では、海外事例から、それぞれの分野で医療情報の利活用がどのような成果をもたらしたかを紹介し、日本においても同様の効果が期待できる可能性を考察する。

① 医療の最適化

医療情報の活用による医療の最適化は、特に医療機関や医療従事者にとって大きなメリットをもたらす。イタリアの大学で行われた、電子カルテが医療の質に与える影響に関して言及している英語論文のシステマティックレビューおよびメタアナリシスによると、電子カルテの導入等のICT化がもたらす影響の一端として、医療従事者の文書作成時間が平均で22.4%削減され、ガイドラインの遵守率が向上するとともに、投薬エラーや有害事象の減少が報告されている¹⁰⁾。加えて、電子化された情報の地域連携システムの導入により、米国のマサチューセッツ州の医療機関では、入院期間が10.2%削減したという報告もある¹¹⁾。米国のサウスカロライナ州では、地域連携システムを導入する医療機関は増加しており、82%の医療機関が実際に運用している¹²⁾。一方で、患者の死亡率や罹患率などの患者の予後に対する直接的な効果に

ついては、明確な改善が見られないとする報告もある¹³⁾。これは、HIEの使用が臨床現場でどのように影響を与えたかを直接測定した研究が少なく、因果関係の評価が難しいこと、また、転帰が多様で一貫した結論を引き出すことが難しいためとされている。この報告で言及した研究の一つでは、単一ベンダーのEHRプラットフォーム間で医療情報が交換された場合に再入院率の有意な減少が見られた一方、異なるプラットフォーム間での連携では有意な減少が見られなかったことが報告されている。このような事例は一例に過ぎないが、HIEの影響はその導入形態や使用環境に左右される可能性が示唆されており、今後、本邦においてこれらの医療情報の連携基盤を医療機関へ積極的に導入するためには、患者の予後に悪影響を与えることなく、医療機関や医療従事者の業務改善や医療の質の向上に資するため、具体的な条件や導入方法について、より精緻な論拠を明らかにしていくことが求められる。

② 健康増進・公衆衛生の向上

医療情報の活用は、国全体の健康増進や公衆衛生の向上にも寄与する。COVID-19ワクチンの導入において、イスラエルでは、20年前から整備されたデジタルヘルスインフラと単一IDによる統一的なデータ管理が有効活用された。これにより、接種の優先順位付けやワクチン投与量、接種者数のデータ収集が継続的に行われ、世界で最も早く人口の過半数にワクチンを接種した国となった。また、イスラエル最大の保健機構 Clalit は、ワクチン接種の有効性を評価するため、接種者と未接種者それぞれ60万人を対象に大規模な研究を実施し、豊富な医療情報を活用することで、世界に先

-
- 10) Campanella P, Lovato E, Marone C, et al. The impact of electronic health records on healthcare quality : a systematic review and meta-analysis. *Eur J Public Health*. 2016 ; 26(1) : 60-64.
- 11) Ayer T, Ayvaci MUS, Karaca Z, Vlachy J. The impact of health information exchanges on emergency department length of stay. *Production and operations management*. 2019 ; 28(3), 740-758.
- 12) Li Z, Merrell MA, Eberth JM, Wu D, Hung P. Successes and Barriers of Health Information Exchange Participation Across Hospitals in South Carolina From 2014 to 2020 : Longitudinal Observational Study. *JMIR Med Inform*. 2023 ; 11 : e40959.
- 13) Dupont S, Nemeth J, Turbow S. Effects of Health Information Exchanges in the Adult Inpatient Setting : a Systematic Review. *J Gen Intern Med*. 2023 ; 38(4) : 1046-1053.

駆けてエビデンスに基づく研究成果を得た¹⁴⁾。同様に、イギリスでは、NHSが主導するワクチン接種プログラムが全国的に展開された。NHS Digitalは、EHRや保健データを統合するシステムを活用し、ワクチン接種の進捗状況や有効性、安全性を継続的に監視した。このシステムにより、接種対象者の管理とデータ収集が自動化され、イギリス全土でのワクチン接種が迅速かつ効果的に進められた。さらに NHS のデータを用いた研究では、COVID-19による死亡に関連するリスク要因を特定するための重要な知見を提供した¹⁵⁾。これらの事例は、国家単位で統一された基盤を用い、大規模に情報を収集することが、国家の公衆衛生政策の効果を最大化し、国民全体の健康を守る上でいかに重要であるかを示している。

③ イノベーションの促進

医療情報の利活用は、医薬品や医療機器の開発においても大きな革新をもたらす。特に、リアルワールドデータ (RWD) およびそこから得られるリアルワールドエビデンス (RWE) は重要な役割を果たしている。米国や欧州では、RWD の活用を促す法律やガイダンスが整備され、国家レベルでその活用が支援されている。欧州医薬品庁 (EMA) の調査によると、2018年および2019年に提出された新しい販売承認申請の約40%、適応症の拡大の約20%に RWE が含まれており、主に製品の安全性や有効性を支持するデータとして活用されている¹⁶⁾。さらに、RWEを臨床開発計画に活用することで、試験の規模を最適化し、コスト削減にもつながっている。例えば、最近の研究では、RWE を用いることで、多発性硬化症の臨床試験

において第Ⅲ相試験の患者数を40%以上削減し、試験期間を6か月以上短縮することができたと報告されている¹⁷⁾。また、別の研究では、非小細胞肺癌の臨床試験において、RWEとAIを組み合わせたアプローチによって試験の適格基準の再評価が試みられた¹⁸⁾。この研究では、61,094人の EHR のデータを用いて、過去に実施された臨床試験を模倣し、試験の適格基準の設定と試験結果の関係性に関してシミュレーションが実施された。その結果、試験結果に大きな影響を与えることなく、臨床試験の適格基準を緩和できる可能性が示唆され、結果として従来の基準で対象となっていた患者集団の約2倍の患者集団が試験に参加できる可能性があったと結論付けられている。より多くの医薬品や医療機器の開発に RWE を活用するためには、情報の拡充が不可欠である。そのためには多様な情報の連携が重要であり、国家単位で統一された基盤を構築することで情報の互換性も高まり、情報利用の価値はさらに向上する。現段階では、全国医療情報プラットフォームは公的な情報共有の枠組みを中心として検討されているが、全国医療情報プラットフォームの全体像(イメージ)では、「民間のヘルスケアサービス等」の民間の情報も連携する可能性が示唆されている。今後、民間データとの連携も進むことで、さらに幅広い情報の利活用が期待される。

これらの海外事例は、医療情報の利活用が医療の最適化、健康増進・公衆衛生の向上、イノベーションの促進にどれほど貢献できるかを示している。しかし、日本においては、海外の事例で見られるような広範なデータ連携や二次利用の枠組み

14) Dagan N, Barda N, Kepten E, et al. BNT162b2 mRNA Covid-19 Vaccine in a Nationwide Mass Vaccination Setting. *N Engl J Med*. 2021 ; 384(15) : 1412-1423.

15) Williamson E, Walker AJ, Bhaskaran K, et al. OpenSAFELY : factors associated with COVID-19-related hospital death in the linked electronic health records of 17 million adult NHS patients. *MedRxiv*. 2020, 2020.05.06.20092999.

16) Flynn R, Plueschke K, Quinten C, et al. Marketing Authorization Applications Made to the European Medicines Agency in 2018-2019 : What was the Contribution of Real-World Evidence?. *Clin Pharmacol Ther*. 2022 ; 111(1) : 90-97.

17) Martina R, Jenkins D, Bujkiewicz S, Dequen P, Abrams K ; GetReal Workpackage 1. The inclusion of real world evidence in clinical development planning. *Trials*. 2018 ; 19(1) : 468.

18) Liu R, Rizzo S, Whipple S, et al. Evaluating eligibility criteria of oncology trials using real-world data and AI. *Nature*. 2021 ; 592(7855) : 629-633.

がまだ整備されていない。今後、日本でも全国医療情報プラットフォームを基にしたデータ連携の強化が進むことで、海外の先進事例に倣った医療DXの推進が期待されるが、そのためにはより柔軟なデータ収集と利活用の仕組みを構築することが重要である。

4. EHDS 影響評価報告書に見る経済分析

これまで取り上げた海外事例が示すように、医療情報の利活用は医療の最適化や公衆衛生、さらにはイノベーションの促進において大きな効果をもたらしている。これらの効果を客観的に評価し、政策立案に役立てるためには、定量的な分析が不可欠である。特に、経済的側面から医療情報の利活用がどのような利益をもたらすかを評価することは、導入コストとのバランスを理解し、プラットフォーム導入を支える意思決定において重要な指針となる。

ヨーロッパにおいて、EHDSは、医療データのアクセス性、相互運用性、再利用を強化するための重要な取り組みとして推進されており、その構想は、日本にも多くの示唆を与えている。EHDSの目的は、EU加盟国ごとに管理されている医療データを統合し、個人が自分の健康データを管理できるようにする一方で、研究者、イノベーター¹⁹⁾、政策立案者、規制当局等がこのデータに安全かつ効率的にアクセスできるようにするための基盤を整備することである。

EHDSの影響評価報告書は、EHDSの立法法案に付随する形で公表され、その導入によって期待される社会的・経済的影響を包括的に評価するための基盤を提供している。報告書では、利益とコストを慎重に比較し、政策として適切なバランスが取られていることが示されており、このアプローチは日本における基盤整備においても非常に参考になる。

報告書では、EHDSの導入により想定される10年間の利益の概要が示されており（表2）、その試

算では導入後10年間で110億ユーロを超える経済的利益がもたらされると予測されている。

中でも、最も大きな経済的利益がもたらされる項目は、「ヘルスケア分野におけるコスト削減と効率化」であり、特に遠隔医療の導入が大きく寄与することが示されている。従来の対面診療に比べて、遠隔医療は患者と医療提供者の双方にとって時間と費用を大幅に削減できる可能性があり、これが医療全体の効率向上に大きく貢献している。この効率化による10年間のコスト削減効果は、総額54億ユーロに達すると見込まれている。この効果は、患者の移動コストの削減や診療時間の短縮、そして患者管理の効率化に起因するものである。

さらに、「ヘルスデータアクセスの再利用によるコスト削減」も、大きな経済的利益をもたらすと試算されている。EHDSの導入により、必要な医療情報へのアクセスが迅速かつ容易になると同時に、アクセスコストが大幅に削減される。これは、データ利用者が各データ主体に直接アクセスして同意を得る必要がなくなり、代わりに各国のヘルスデータアクセス機関を通じて情報にアクセスすることで実現されるものである。これにより、アクセスプロセスが効率化され、データ利用者の負担が軽減されることが期待されている。この取り組みにより、10年間で34億ユーロ規模のコスト削減効果が見込まれており、研究者、イノベーター、規制当局、政策立案者などのデータ利用者に利益をもたらすことが期待されている。

また、RWEの活用による経済的利益も大きく評価されている。RWEの利用により、医薬品の効果や安全性に関するデータがより正確に把握され、これが医薬品の価格再交渉や規制プロセスの効率化に寄与している。この効果により、約8億ユーロの経済的利益が予測されており、その中には、がんや糖尿病、心血管疾患、呼吸器疾患といった主要な疾患領域における薬剤費用の価格再交渉によるコスト削減も含まれている。

EHDSの影響評価報告書は、適切に整備された

19) 本稿におけるイノベーターとは、デジタルヘルス、医療機器、製薬分野において新たな技術や製品を開発・導入する者を指す。

表2 EHDS の導入により想定される10年間の経済的利益の概要

項目	金額	コメント
直接的利益		
ヘルスケア分野におけるコスト削減と効率化	54億ユーロ (患者1人当たり年間58.9ユーロの節約)	遠隔医療の普及率向上によるコスト削減。 従来の医療費が患者1人当たり年間68.9ユーロかかるのに対し、遠隔医療を利用すると10ユーロしかかからないと仮定した場合。
国境を越えた医療サービス提供におけるコスト削減	1.73～2.32億ユーロ	MyHealth@EU を通じた国境を越えた電子処方箋や医療画像サービスの迅速な展開によるコスト削減。
研究者とイノベーターによるヘルスデータへのアクセスの効率化	8億ユーロ	健康分野の政策立案において、リアルワールドエビデンスを活用することで、医薬品の有効性に対する透明性が高まり、より効率的な規制プロセスが実現するため、大幅なコスト削減が可能となる。
ヘルスデータアクセスの再利用によるコスト削減	34億ユーロ	研究者、イノベーター、規制当局、政策立案者にとってヘルスデータをさらに処理するために、データ主体に直接アクセスする必要がなく、代わりに各国のヘルスデータアクセス機関からのアクセス許可に依存することで生まれるコスト削減。
ヘルスデータの価値の向上	12億ユーロ	データ駆動型のイノベーションおよび健康分野における規制や政策立案プロセスを支える、より集中的かつ広範なヘルスデータ共有によって生み出される価値。
間接的利益		
デジタルヘルス・ウェルネスアプリケーション市場の成長への貢献	それぞれ年間20%～30%および15%～20%の成長が見込まれる	
国境を越えた処方箋の非提供率の削減	26%	現在の非提供率（46%）の推定に基づく
ヘルスデータの利用と再利用に基づく革新的な医療製品の提供	データ不足のため 定量化不可	市民、医療従事者および医療提供者は、健康データの利用と再利用に基づく革新的な医療製品から利益を得ることができる。

注：推奨オプションから得られる10年間の利益概要（ベースライン比）である

出所：European Commission「Impact Assessment on the European Health Data Space」³⁾を基に医薬産業政策研究所にて作成

医療情報フレームワークが、医療提供の効率化に寄与するだけでなく、イノベーションを促進し、医療の質的な向上を通じた経済の発展に寄与するための重要な基盤であることを示している。特に、報告書で示された経済的利益の各項目の試算は、医療情報の利活用による利点を金銭的価値に変換し、導入コストの合理性を示すものであり、EHDSによる医療情報活用の影響を具体的に示している。このような試算は、日本における全国医療情報プラットフォームの構築においても非常に参考となり、今後、日本においても経済的影響を定量的に評価し、その利活用の効果を具体的に示すこ

との重要性を示唆しており、導入に向けた意思決定を支えるための指標となると考えられる。

5. まとめ・考察

本稿では、日本における全国医療情報プラットフォームの構築を視野に入れ、医療情報の利活用がもたらす広範な波及効果を整理した。その結果、日本における全国医療情報プラットフォームの構想に基づく医療情報の共有や連携の利活用は、医療の最適化、健康増進・公衆衛生の向上、そしてイノベーションの促進という3つの分野に分類された。実際に、欧州や米国では、医療情報の一元

的な管理や二次利用により、患者ケアの効率化や公衆衛生上のリスク対応の強化、さらには研究開発の促進につながる事例の効果が試算されており、これらの事例は日本における取り組みにも応用できるだろう。

全国医療情報プラットフォームの導入には、大きな期待が寄せられているものの、その実現には技術的・制度的課題、そして高額な投資が伴う。これらの課題を克服し、長期的な成功を確保するためには、導入前に影響評価を実施し、その経済的效果を試算することが一助となる。EHDSでは、医療情報の利活用による経済的利益が定量化され、国家単位さらには、国を跨いだデータ基盤を整備することが多面的な利益をもたらす可能性が示されている。EHDSの影響評価報告書にあるように、医療情報の利活用による経済的利益を定量的に評価することは、導入コストと効果のバランスを適切にとる上で不可欠である。日本において

も同様の影響評価を実施し、経済的利益を具体的に示すことで、政策立案者の意思決定を支援し、全国医療情報プラットフォームの円滑な導入と効果的な運用を推進することが期待される。

さらに、日本独自の経済環境や医療制度に適合した経済分析も重要である。データ基盤の整備だけでなく、医療DXの推進に向けた投資や規制の改革が不可欠であり、これらの総合的な取り組みが医療情報の利活用を最大化する鍵となる。こうした施策を進めることで、社会全体の医療サービスの質の向上と国民の健康増進が実現されることを強く期待したい。最後に、多様なステークホルダーが一丸となって協力し、全国医療情報プラットフォームの構築とその効果的な活用に向けた議論を深め、さらに具体的な取り組みを推進することが重要である。本稿が、その取り組みに向けた一助となることを期待する。

製薬企業ニュースリリースに見る 最近の医療情報利活用の動向

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子

要約

- 製薬企業による医療情報の活用事例について、世界及び日本における医薬品事業売上上位20社（2023年度）¹⁾を対象に、2019～2023年度に公表されたニュースリリースを調査した。
- 主に医療情報は医療機関やデータベースプロバイダから入手されていたが、国内大手企業では診察時だけでなくデジタルデバイスを用いて患者の日常生活上の情報（以下、日常生活データ）を取得し利用する研究が目立ち、一方で、世界大手企業では、複数国のデータを統合して利用する研究が多く認められた。
- 利用される主なデータの種別は、診療データ、診療報酬データ、健康情報、ゲノム情報及び日常生活データであり、単一の種類の情報だけでなく、複数種類の情報を組み合わせて分析・研究されていた。
- 研究の目的は診断・治療・管理ソリューション、有効性・安全性監視、疾患分析が主であったが、国内と外国大手企業では利用目的の傾向に差が認められた。
- 現在の日本の研究では、これまで主に活用対象とされてきた医療情報（診療データや診療報酬データなど）の範囲を超えた日常生活データや健康情報などの必要性が窺われ、これら複数種の情報、更に海外データ等との相互連携を見据

えた体系の構築が、製薬企業における医療情報の利活用を促進するキーとなると考えられた。

1. はじめに

医療情報の利活用は製薬企業にとって経営のスピードを上げ国際競争力を高めるための重要な戦略的ツールとなりつつあり、その利用目的は多岐にわたる。例えば、患者の健康状態や過去の医療情報を活用して臨床試験のデザインや実施における参考情報として活用したり、特定の疾患や治療法に関する洞察を得て、新薬開発や既存製品の改善につなげたり、市場動向や患者のニーズに合わせた製品開発やマーケティング戦略の策定に利用することも可能である。更に、医療機関とのパートナーシップを通じて、リアルタイムでのデータ収集や医療の品質改善に貢献することもある。医療情報に関して、過去数年の間には法制面においても個人情報保護法の改正により匿名加工情報の仕組み（2017年5月施行）及び仮名化工情報の仕組み（2022年4月施行）²⁾が設けられ、また、次世代医療基盤法の制定（2018年5月施行）、更には仮名加工医療情報が創設（2024年4月施行）³⁾されてきた。また、製造販売後データベース調査や医薬品安全性監視における様々な情報収集に活用するための規制変更も行われ、事例提供⁴⁾などによる周知活動も進められており、製薬企業が医療情報

1) 日本製薬工業協会、大手製薬企業の規模と業績、DATA BOOK 2024

2) 個人情報保護委員会、2020年6月12日交付「個人情報の保護に関する法律等の一部を改正する法律」

3) 内閣府、2017年5月12日交付「医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報及び仮名化工医療情報に関する法律」

4) 厚生労働省、2023年6月9日付事務連絡「医薬品安全性監視における医療情報データベースの活用とその事例」について

を利活用できる環境が整えられつつある。

本稿では、製薬企業による医療情報の利活用の現状に焦点を当て、その具体的な活用事例について調査を行った。製薬企業が医療情報をどのように収集、分析し、活用しているかを明らかにするとともに、今後の日本における医療情報利用に際して予測される課題を整理する。医療情報に関する環境整備が急がれる現在において、製薬企業が公表している情報から医療情報利活用の実際の事例を提示することで、製薬企業の視点から見た医療情報利活用の今後の展望を明らかにし、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. 調査方法

公開情報から製薬企業における最新の医療情報利活用の状況を調査するため、世界及び日本における医薬品事業売上の各上位20社（2023年度）を大手企業と定義し、本社事業所所在国のホームページに掲載されている2019～2023年度に公表されたニュースリリースを精査した。そのうち、医療情報を利用した研究（試験）を報告したニュースリリースを調査の対象として抽出し、研究等の実施場所（国内、海外の別）、データ取得国、データ提供元、データ種別及び目的について整理した。ただし、学会発表の概要報告を目的としたニュースリリースで、利用したデータ種別やデータ元が不明瞭である情報については除外した。また、承認申請のために実施された臨床試験を継続して長期安全性等を実施し、リアルワールドデータとして公表していると判断されたものも抽出から除外とした。医療情報の入手先は政策研ニュースNo.72において整理された分類⁵⁾を用いてカウントし、データ種別の医療情報については、詳細の種別が記載され把握できたもののみ、更に種別を分類し整理した。

3. 結果

3-1 ニュースリリース抽出件数とデータ取得国

表1にニュースリリースを抽出した企業数、報告件数及びその研究のデータ取得国を示した。

調査の結果、該当するニュースリリースは国内大手企業で7社18件、世界大手企業で13社40件抽出された。ニュースリリースの利用目的が企業ごとに異なっていることから、以下に紹介する抽出事例に対する分析は、網羅的に研究を抽出することができていない可能性があり、その正確な頻度や傾向に偏りがある可能性を考慮する必要がある。

世界大手企業では、順位に因らず一定のニュースの抽出ができたが、国内大手企業の報告は18件中6件の報告が同一企業から抽出されており、また、上位12社からの抽出となっており、積極的に医療情報活用を推進している国内大手企業は限定的である可能性が考えられた。

国内大手企業では海外データを利用したものが18件中9件含まれていた。うち7件は米国を含んでおり、3件は複数国のデータを利用していた。海外データを利用した研究の目的としては、対象疾患への治療製剤投与による重篤な有害事象及び感染症の可能性をレトロスペクティブに調査するもの、疾患分野の臨床試験デザインや施設選定、症状評価尺度研究などを目的としたレジストリ研究、健康情報を用いた疾患有病率と睡眠への影響調査、対象疾患の予測・予防・管理・治療に関する課題解決のためのデータ創出とデジタルソリューション開発などがあった。1つ目に述べたレ

表1 報告件数とデータ取得国

	報告 企業数	報告 件数	データ 取得国	
			国内	海外
国内大手企業	7	18	9	9
世界大手企業	13	40	3*	40

*複数国データ利用研究における参加

注：国内は日本、海外は日本以外

出所：各社ホームページより医薬産業政策研究所にて作成

5) 医薬産業政策研究所、がん領域における研究の試料・情報の入手経路、政策研ニュース No.72（2024年7月）

トロスぺクティブ調査については、複数国に跨る42医療機関から1,000名以上の特定疾患患者データを収集したもので、このような海外との医療情報の連携、取扱いは現在の日本において議論が進んでいない部分である。また、他の事例では、健康情報の利用、オンライン調査やデジタルデバイスを用いて前向きに取得した新たな情報と既に蓄積のある医療データ等の組み合わせ解析を行っており、国内での各種情報連携、組み合わせ解析の困難さがこれらの研究を国内で実施していない理由の一部として考えられる。

一方、世界大手企業はすべて海外データ中心の利用であり、複数国のデータを利用するものが多く、このうち、日本のデータを含むものは3件認められた。具体的には、高カリウム血症の治療・管理の現状と臨床的意義をグローバルに調査する研究、炎症性腸疾患患者の経験（精神的負担、障壁、介護ケアの経験及び医療関係者とのコミュニケーション方法）を調査し、疾患理解を促進するための研究、そして特定の非小細胞肺癌患者に対して初回治療のアファチニブに続いてオシメルチニブを投与する治療法を評価したレトロスペクティブ観察研究であった。情報は各企業の本社事業所所在国に限らず、その他の国のデータを利用（17/40件、複数国のデータ利用は13/17件）している研究も多く認められた。このことは、それら企業において日本人情報なしでの意思決定がなされる可能性が高いことを示すものでもあり、日本の製薬産業における国際連携の機会を拡大するためにも国内医療情報の利用促進の先に、海外情報との連携を見据えた医療情報基盤を構築する必要がある、また、課題といえる。

3-2 医療情報の入手先

医療情報の入手先分類結果を表2に示した。主な入手先は後向きに取得された情報に分類される医療機関由来の医療情報が22件（国内大手企業10件、世界大手企業12件）で最多で、次に前向きに取得された医療・生体情報が20件（国内大手企業6件、世界大手企業14件）、データベースプロバイダからの医療情報11件（国内大手企業0件、世界

表2 研究に利用された医療情報の入手先

情報の種類		合計	国内企業	外国企業
前向き取得 (オンデマンド)	生体試料	2	1	1
	医療・生体情報	20	6	14
後向き取得 (リポジトリ)	生体試料			
	サプライヤー	1	0	1
	医療機関	1	1	0
	臨床試験	0	0	0
	医療・生体情報			
	データベースプロバイダ	11	0	11
	医療機関	22	10	12
	臨床試験	1	1	0
	データプラットフォーム	3	0	3
	その他学会主導のレジストリ等	2	1	1

注：生体試料は、検査値、遺伝情報等の医療情報を取得するための血液サンプルなど
 出所：各社ホームページより医薬産業政策研究所にて作成

大手企業11件）であった。
 今回抽出したニュースリリース中の限定された条件下ではあるが、国内、世界大手企業ともに医療機関由来の医療情報の利用が多く認められ、これらを研究に利用するニーズは高く、利用しやすいルートであると考えられた。

世界大手企業では前向きにデータを取得する研究は14件であったが、デジタルデバイスを利用しているものは1件のみであり、多くの研究は診療における医療情報収集による臨床研究が占めていた。一方、国内大手企業では、デジタルデバイスで前向きに取得する日常生活上の情報（バイタル、活動量や睡眠状態等）が5件、オンラインアンケート調査による疾患特異的情報1件となっており、取得した日常生活上のデータは各種疾患の予測、予防、管理、治療に関する分析・研究や精密医療・個別化ヘルスケアを研究することを目的として利用されていた。

前向きに取得した情報は国内大手企業では2件を国内で、2件は米国、1件は米国と英国、更に1件は中国から取得していたが、外国大手企業は14件中9件を複数国から取得していた。

3-3 データの種別

抽出した研究で実際に利用されていたデータの種別は表3に示す通り、医療情報46件（国内大手

表3 利用された情報の種別

	合計	国内企業	外国企業
医療情報	46	10	36
診療データ	17	5	12
診療報酬データ	10	1	9
検査データ	3	1	2
画像データ	2	1	1
臨床試験データ	1	1	0
健康情報	6	4	2
ゲノム情報	6	1	5
日常生活データ	6	6	0
その他	8	5	3
利用データ合計	72	26	46

注：複数種類の情報を利用している場合には、それぞれ該当のデータ種別で複数カウントした

出所：各社ホームページより医薬産業政策研究所にて作成

企業10件、世界大手企業36件）の他、健康情報、ゲノム情報及び日常生活データがそれぞれ6件（健康情報：国内大手企業4件、世界大手企業2件、ゲノム情報：国内大手企業1件、世界大手企業5件、日常生活データ：国内大手企業6件、世界大手企業0件）であった。医療情報の内訳は診療データが17件（国内大手企業5件、世界大手企業12件）と多数を占め、診療報酬データも10件（国内大手企業1件、世界大手企業9件）の利用があった。

表3の利用データ合計に示したように国内大手企業では18件の研究で26件のデータが、また、世界大手企業では40件の研究で46件のデータが利用されており、1つの研究に利用された医療情報は、単一の種類の情報だけでなく、複数種類の情報を組み合わせて分析されているものが含まれる。前向きに新たな情報を取得しながら、既存の診療データやアンケート調査を組み合わせたり、ゲノム情報と診療情報、画像情報等を組み合わせたりと様々なパターンがある。具体的には、睡眠状態、心拍、活動量などの生活習慣データを取得、蓄積し、既に取得している診療データと合わせて解析することで、生活習慣や環境要因を軸とした精密医療や個別化ヘルスケアの実現を目指した研究、一般住民の全ゲノムリファレンスパネルの充実を図り、日本人集団に特徴的な遺伝子型の発見、ゲ

ノム情報と健康、医療情報の統合的解析による新薬・治療法の研究開発など、各種データ連携によるさまざまなデータ利活用が行われている。

診療報酬データの利用報告は世界大手企業での利用が多い。海外データの利用報告事例としては、診療報酬内の処方データに基づき、疾患のペイシェントジャーニーを分析・可視化したり、治療パターン、服薬アドヒアランスや、臨床転帰を検討する研究が複数みられた。

医療情報だけでなく、健康情報（6件：国内大手企業4件、世界大手企業2件）や日常生活データ（6件：国内大手企業6件、世界大手企業0件）を利用して疾患分析・研究を行う取り組みが複数認められ、この事例は国内大手企業に多かった。健康情報はゲノムリファレンスパネルの拡充、健康情報と運動能力、特定疾患と生体関連因子、疾患と環境・ライフスタイル・遺伝的要因の関係性の研究などに利用されていた。

抽出した研究における疾患・分野は幅広く、また、特定の疾患に紐づかない研究も複数（7件）認められた。特に日本においてはがん領域での医療情報基盤整備が先行しているが、世界大手企業の研究では各企業の得意分野での活用も多く認められ、より幅広い疾患での研究が報告されており、医療情報の利活用の適用範囲は疾患を限定するものではないことが見て取れる。

3-4 研究・調査目的

研究の目的としては診断・治療・管理ソリューション（21件：国内大手企業5件、世界大手企業16件）、有効性・安全性監視（18件：国内大手企業3件、世界大手企業15件）、疾患分析（12件：国内大手企業6件、世界大手企業6件）に用いられた事例が多く認められた。データベース研究に利用（6件：国内大手企業2件、世界大手企業4件）や新薬・検査・治療法研究開発（6件：国内大手企業3件、世界大手企業3件）も複数の報告が認められた。

国内と外国大手企業では利用目的の傾向に差が認められた。国内大手企業の報告では、疾患分析、診断・治療・管理ソリューションに利用される頻

表4 医療情報利活用における研究・調査の目的

研究目的	合計	国内企業	外国企業
診断、治療、管理ソリューション	21	5	16
有効性、安全性監視	18	3	15
疾患分析	12	6	6
データベース研究	6	2	4
新薬・検査・治療法研究開発	6	3	3
疫学調査	3	1	2
予防・先制医療	2	1	1
予後検討、評価	1	0	1
その他	5	2	3

注：複数種類の情報を利用している場合には、それぞれ該当のデータ種別で複数カウントした
出所：各社ホームページより医薬産業政策研究所にて作成

度が多いが、世界大手企業で多く認められた承認後の有効性、安全性監視を目的とする研究をニュースリリースとして報告しているものは少なかった。日本において、既に薬事規制上、安全性監視等でのリアルワールドデータの利用が可能であると認知されているところではあるが、市販後の有効性、安全性に関する情報のプロモーション利用は厳しく制限されており、国内でこの目的での医療情報利用メリットは限定的であることも背景として考慮する必要がある。一方で、世界大手企業においては、今回抽出から除外した学会発表の概要報告を目的としたニュースリリース中に、エビデンスジェネレーションを目的とした医療情報を利活用した研究報告が複数認められており、海外においてはこの目的における医療情報の利活用は更に進んでいるものと推測される。

4. 最近の医療情報利活用の現状からみる今後の課題と可能性に関する考察

今回、ニュースリリースで公表された医療情報の利活用にかかわる研究について調査した結果、国内大手企業における以下の特徴的な傾向、事例を認めた。

まず1つ目として、製薬企業における医療情報の利活用にかかわる研究の抽出は、世界大手企業では抽出した20社の順位に因らず報告を抽出することができたが、国内大手企業では上位社からの報告に絞られ、報告件数も世界大手企業からの報

告の半数程度であった。このことはニュースリリースの利用目的が企業ごとに異なり、十分な研究を抽出できていない可能性がある一方で、日本における医療情報利活用の促進が滞っている状況を示唆しているとも捉えられる。現在、医療情報の利活用を推進するための各種施策が打たれているところであり、これらの効果に期待したい。

2つ目は、国内において前向きに医療情報を取得するケースが多く認められたことがあげられる。これまでに蓄積されてきている医療情報の範囲を超えた情報を必要としている可能性が窺われる。世界大手企業の検討からも、データの利活用ができる疾患分野は広く、各種領域における医療情報を取り扱う機関の拡大、あるいは前向きに取得するデータの取り込み利用を拡充することや、これら情報と既存情報、そして他機関が持つ情報との相互連携などの体制を構築し、促進していくことが今後求められていくと考えられる。

3つ目は日常生活データの利用が複数認められたことである。患者の状態を診察時だけでなく日常的に状態を把握、理解し、より適切で効率的な治療方針を検討することのみならず、健康情報から疾患予測を行ったり、疾患との関係を検討するなどの研究が報告されていたことから、今後は健康情報の利活用の必要性が増していくものと考えられる。

更に、今回の検討において国内のデータベース拡充を図る研究が見られたが、前向きに情報取得し、既存のデータと合わせて解析されていることから、今後新たに習得し蓄積するデータを既存データと適切に紐づけできる適切な体制を構築する必要がある。

利用している情報の種類は、単独の情報だけでなく、多種類の情報あるいは複数国を組み合わせ分析・研究されているものも多く見られた。現在の日本では、公的データベース内及び民間レジストリ等とのアクセス性、個人情報保護など複数種のデータ連携を困難としている制度上の課題が多く存在し、このニーズを満たすことが難しい状況であることが推測される。国内の複数種類のデータ連携、あるいは、更に海外データとの連携

を念頭に考え進めることで、よりフレキシブルな活用を実現できると考えられる。

5. おわりに

医療情報の利用においては、電子カルテの情報に加えゲノム情報や Personal Health Record の情報等も含めた健康医療情報を、患者自らが健康管理のために利用したり、医療現場で個別化医療に役立てる一次利用と、そこから蓄積されるデータを製薬企業が医薬品等の研究開発や安全性監視に役立てたり、政府が医療政策に活用する二次利用の両立が理想である。日本国内では National Database を中心とした各種公的データベースの連結やインフラ整備など、医療情報の活用を深化するための環境構築が進められ、制度面においてもこれら情報の薬事利用の機会創出が進みつつある。

本稿では、製薬企業における最近の医療情報の利用の動向、研究内容を把握する目的で、各社ニュースリリースを用いてその研究内容を確認、整理、分析した。各社ニュースリリースの利用目的等の影響も含め、抽出した情報には偏りがある可能性があり、結果の解釈に注意が必要であるが、医療情報利活用における現在の製薬企業の取り組みは多岐にわたっていることが確認できた。今回の結果からは、特に以下の方向性を認めた。まず、製薬企業は前向きな医療情報取得を含むデータの

多様性と統合を重視し、疾患予測や治療の最適化に向けた日常生活データの活用を進めている。これにより、患者の個別化された医療アプローチが可能になると期待される。

また、各種データベースとの連携を行い、異なる情報源からのデータを統合してより包括的な分析を行うことに注力している。この取り組みは、既存のデータと新たな情報を結びつけることで、新たな治療法や医療の進展につながる可能性がある。

しかしながら、これらの取り組みにはいくつかの課題も見え隠れする。例えば、異なる情報源からのデータを統合する際のデータの品質や整合性の確保、プライバシー保護の課題、そしてデータの標準化に関する問題などが挙げられる。特に、国内に限定することなく海外データとの連携を視野に適切な利用を進めるためには、それぞれの国の法的規制や倫理的な枠組みの整備なども考慮していく必要が生じる。

今後、各種データの連携が製薬企業における医療情報の利活用を促進するひとつのキーとなると考えられ、より効果的な医療情報の利活用を進め、健康と医療の分野での革新を促進していくためにも、公的データベースのみならず、民間のレジストリとの連携、更には海外への拡大が検討されていくことを期待したい。

主な活動状況（2024年7月～2024年10月）

7月	1日	政策研ニュース No.72発行	
	4日	ポジションペーパー・「アカデミア発の新薬創出促進のためのトップ研究者を中心とした創薬拠点整備（アンダーワンルーフ・クラスター）」	シリーズ No.1 発行
	4日	ポジションペーパー・「ドラッグ・ラグ／ロスの実態把握と要因分析」	シリーズ No.2 発行
10月	7日	ポジションペーパー・「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」	シリーズ No.3 発行
	15日	講義	「健康医療分野におけるビッグデータの活用」 医薬産業政策研究所 主任研究員 岡田法大 （北里大学大学院薬学研究科『医薬開発学特論Ⅲ』）

レポート・論文紹介（2024年7月～）

ポジションペーパー・シリーズ No.1 発行

「アカデミア発の新薬創出促進のためのトップ研究者を中心とした創薬拠点整備（アンダーワンルーフ・クラスター）」

【要旨】

日本発創薬のグローバルな競争力を強化するためには、増加する研究開発のリスクに対応する日本の実態に即した創薬エコシステムの構築が喫緊の課題である。画期的新薬の創出に繋がる複雑な病態メカニズムの解明とキーファクターの特定には、成果に縛られない自由な発想、科学知識とその活用が必要であり、それを最も主体的に実践できるのは、シーズ創出の出発点といえるアカデミアとされる。しかしながら、近年日本においては米国に比してアカデミア発の新薬創出が減少している。本調査では、特許創出力および論文数を指標とし、アカデミア由来の新薬数を増やすための方策を検討した。研究調査から、成功確度の高い創薬研究においては重要特許創出が必要条件であり、重要特許創出の基礎として高被引用論文の存在が必須となることが示唆された。さらに加えて、高被引用論文が重要特許創出に繋がり、重要特許創出が有望シーズの創出に繋がるというプロセスを強化するための調査を連携の観点から行った。その結果、トップ研究者とのコラボレーションおよび地理的近接性での連携が効果的であること、日本の創薬クラスターは分散的であることが示され、そのために日本においては革新的創薬に結びつく重要特許を創出する力が十分に蓄積されていないことが推察された。各化学・医薬分野で高被引用論文を創出できる国内トップクラス研究者を核とする研究グループを意識的に構築し、重要特許創出力を高めることが国内創薬力強化の重要な手段となるのではないかと考えた。これらを実現する方法として本ポジションペーパーでは、地理的近接性の高い連携体（アンダーワンルーフ・クラスター）の構築を提言した。

ポジションペーパー・シリーズ No.2 発行

「ドラッグ・ラグ／ロスの実態把握と要因分析」

【要旨】

近年の課題となっている日本のドラッグ・ラグ／ロスについて、国内未承認薬と国内承認薬それぞれの特徴から考察した。全体を俯瞰すると、2020年末時点の国内未承認薬は176品目、うち国内開発中は81品目、開発情報がない品目は95品目であり、新興企業品目の未承認薬が顕著に増加、製薬企業品目の未承認薬は微減していた。未承認薬の解析から、ピポタル試験への日本参加促進、新興企業へのアプローチ、臨床試験環境の改善が課題であると考察した。一方、承認薬のドラッグ・ラグを有する品目のラグ期間は16.4ヵ月であり、短縮傾向であるが長期ラグ品目が残っていた。長期ラグ品目の特徴は「買収・提携」「欧米承認後に日本人参加試験を追加実施」「欧米申請企業が新興企業」「市場規模予測が100億円未満」であった。承認薬の解析からは、「欧米承認時の国際共同治験参加等による試験追加の回避」「治験環境整備」が課題であると考察した。これらを製薬産業の視点から見ると、薬事・臨床試験環境改善による研究開発投資の適正化と、日本市場の収益性・魅力度向上による期待収益のバランスが重要であり、公的施策と企業努力の両面での持続的な創薬環境改善が必要と考察した。

【要旨】

革新的な医薬品を持続的に創出するために、医薬品のもたらす医療的な価値と社会的な価値の観点から日本の薬価制度の問題点と課題を指摘した。

少子高齢化や労働人口の減少などの社会環境の変化や創薬技術の高度化によって、求められる治療薬の価値が変遷してきた。この変遷により健康寿命の延伸に寄与する医療的な価値に加え、社会の持続性に寄与する社会的な価値をもたらす画期的新薬を始めとする医療イノベーションへの期待が高まった。

諸外国では、新医薬品の上市時の評価において、医療的な価値に加え、介護者負担の軽減や労働生産性の改善等、社会課題の解決に向けた社会的な価値が考慮されるようになってきている。その一方で日本の薬価制度では、社会的な価値を評価する明確に規定した仕組みは作られていない。更に医療的な価値の評価においても原価計算方式で算定された新医薬品は、医療的な価値に位置づけられる有用性・市場性等を補正加算で評価されたとしても、計算方式のプロセスで薬価に十分に反映されない場合が多い。

将来に向け革新的な創薬研究・開発を持続的に行うことができるのか問題提起し、「原価計算方式」と「補正加算」の見直しや「社会的な価値」の新たな評価制度が必要であると提言した。

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11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