

政策研ニュース No.74

OPIR Views and Actions

2025年3月

目次

目で見る製薬産業

世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍

－ 2023年の動向 －

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美…… 1

NDB オープンデータでみた糖尿病関連の特定健診データ・処方薬の推移

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治……13

Points of View

日本先行承認された新医薬品の特徴

－ 薬価算定状況等の観点からの調査・分析 －

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美

医薬産業政策研究所 主任研究員 白石 隆啓……26

政策研だより

主な活動状況（2024年11月～2025年2月）……………43

レポート・論文紹介（2024年11月～）……………44

世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍

—2023年の動向—

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

要約

●2023年の医薬品世界売上高上位100品目(上位品目)の企業国籍や日本由来品目の動向をアップデートすることに加えて、2023年上位品目の売上の特徴について解析した。

●上位品目数動向

▶創出企業国籍別順位上位6か国で9割超を占め、上からアメリカ(48)、スイス(10)、イギリス、ドイツ、デンマーク(各9)、日本(8)の順であった(括弧内は品目数)。

▶日本は前年からランクは変わらないものの、今年度は前年と比較して1品目増え8品目であった。日本のランクイン数が増えるのは2016年以来であった。

▶新規ランクイン品目(再ランクインを含む)は11品目あったが、そのうち日本の新規ランクイン品目数3品目で、2023年度の新規ランクイン数としては国籍別で最多であった。

●上位品目売上動向

▶上位品目の売上に占める国籍別割合で、日本は4.8%と、品目数の占める割合8%(=8品目)を下回っていた。

▶一方上位品目に占める割合は、ドイツは16.4%、デンマークは11.8%で、品目数に占める割合より高かった。

▶ドイツ、デンマークは、ATC分類A(消化管と代謝作用)に占める売上比率が大きい一方、日本、スイス、イギリスは、ゼロであった。
▶上位品目の売上上昇の著しいA分類品目の有無が売上比率に影響していた。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、医薬品世界売上高上位100品目(以下、上位品目)について、各品目の基本特許¹⁾を調査し、特許を受けた発明が行われた時点において、権利を有していた企業を調査・報告している²⁾。今回、2023年の上位品目の企業国籍や日本由来品目の動向をアップデートすることに加えて、2023年品目売上の特徴について解析した。

2. 調査方法

上位品目については、IQVIA World Review Analyst 2023に掲載されたリストから、従来同様後発品・バイオシミラー・診断薬・政府一括購入など一般に流通していないワクチン・治療薬を除いた上位100品目を選抜し、今回の調査対象とした³⁾。

各品目の基本特許はクラリベイト・アナリティクス社の Cortellis Competitive Intelligence を用

1) 本調査における基本特許とは、物質特許や用途特許等、各品目の鍵となっている特許を示す

2) 医薬産業政策研究所「国・企業国籍からみた医薬品の創出と権利帰属」政策研ニュースNo.42(2014年7月)、以降、政策研ニュースNo.47(2016年3月)、No.50(2017年3月)、No.52(2017年11月)、No.55(2018年11月)、No.58(2019年11月)、No.61(2020年11月)、No.64(2021年11月)、No.67(2022年11月)、No.71(2024年3月)にて報告

3) Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)

い、各品目の“Patent”に収録された特許のうち、“Product”に分類された特許をもとに特定した。これまで報告してきた分析手法²⁾と同様、以下のように国籍を分類して解析した。また Evaluate Pharma[®]（2024年11月時点）を用いて情報を補完した。

- **医薬品創出企業の国籍**：各品目の基本特許に記載されている出願人／譲受人の国籍としたが、出願時点で海外親会社がある場合には親会社の国籍とした。これは鍵となる物質・用途・技術などの要素を発明する過程において人材や資金といったリソースなど親会社の寄与があると考えたためである。主な解析は本分類で実施した。
- **出願人国籍**：各品目の基本特許に記載されている出願人／譲受人の国籍をそのまま採用した。実際に鍵となる要素を見出した企業の国籍を調べることは、実際の「創薬の場」がいずれの国にあるかを知る上で一助になると考えられる。本集計は図2、図3で使用した。

ATC code分類はIQVIA社データに基づいて分類した。有効成分の技術分類は化学合成医薬品とバイオ医薬品に分類した³⁾。化学合成医薬品とは、段階的な化学合成によって製造される医薬品（低分子）を指す。バイオ医薬品は日本における承認情報において抗体等一般名に遺伝子組換え（Genetical Recombination）とある品目、また、血液製剤やワクチンなど添付文書に特定生物由来製品、生物由来製品と記載されている品目とした⁴⁾。日本で承認されていない品目はFDAの承認情報や各社HP等で個別に調査した⁵⁾。

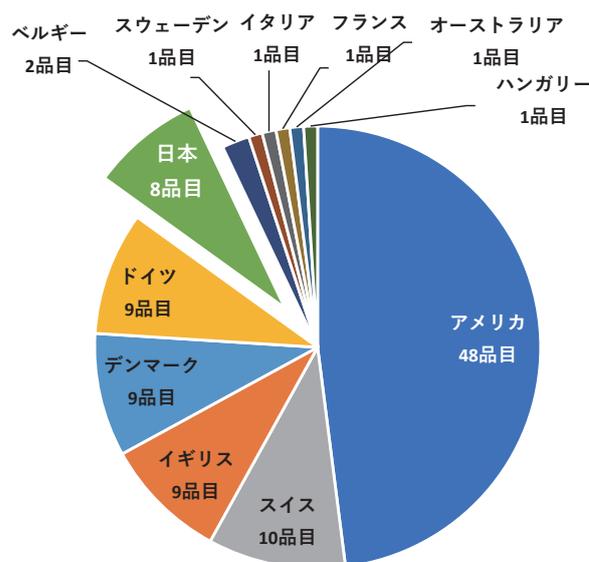
3. 結果

3-1. 上位品目数動向

3-1-1. 医薬品創出企業の国籍別医薬品数

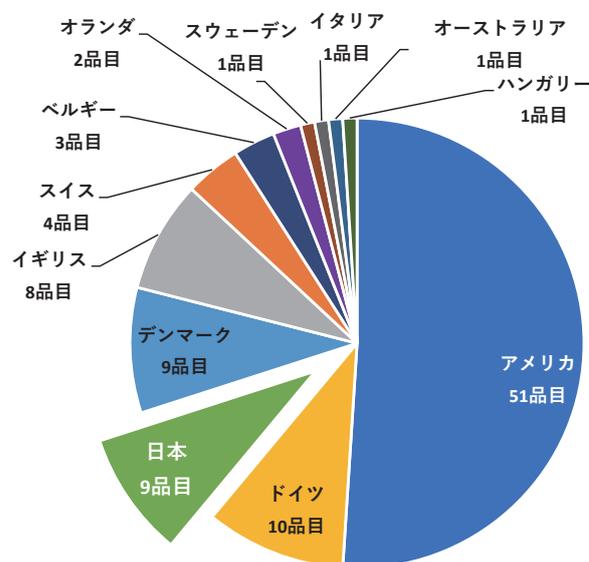
上位品目について、各医薬品における基本特許を調査し、出願時の企業国籍を医薬品創出企業の国籍と定義し、国籍別の医薬品数を円グラフで示した（図1）。今回2023年の調査の結果、1番手は

図1 医薬品創出企業の国籍別医薬品数



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma[®]（2024年11月時点）、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

図2 出願人国籍から見た国籍別医薬品数



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma[®]（2024年11月時点）、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

4) PMDA HP： <https://www.pmda.go.jp/about-pmda/outline/0001.html>

5) FDA HP： <https://www.fda.gov>

図3 売上上位品目新薬の出願人国籍



注1：創出企業としての担い手の分類が複数にまたがっているときは均等に割り付けた。たとえばベンチャー1社とアカデミア1機関の共同出願であればベンチャー0.5、アカデミア0.5とカウントした。

注2：Evaluate Pharmaにおいて“Biotechnology”企業に分類される企業のうち、特許優先日の年度売上高が5億ドル未満かつ企業設立日から特許優先日までの期間が20年未満の企業を「ベンチャー」とした。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2008-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma (2024年11月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)。

アメリカ(48品目)、2番手はスイス(10品目)、3番手はイギリス、デンマーク、ドイツ(ともに9品目)、6番手は日本(8品目)、7番手はベルギーで2品目、以下1か国1品目ずつ(計5品目)であった。日本は昨年から1品目増であった。2022年から2023年で全体の入れかえ品目総数は11品目であった。

3-1-2. 出願人国籍から見た国籍別医薬品数

次に、実際の「創薬の場」を反映している出願人国籍別の品目数を図2に示した。本集計においてもアメリカが最も多く51品目であった。2番手はドイツで10品目であった。3番手は日本、デンマークで各9品目であった。スイスは親会社企業国籍から見た調査では10品目であったが、本出願人国籍から見た調査では4品目であり、この傾向は4年前の2019年調査から変わらない。スイスの場合、国外にある傘下企業が特許の『鍵』となる

要素の発明を行っていることが伺え、上位品目を創出するポテンシャルを持った企業を早期に傘下に入れたことによるものと考えられる。

3-1-3. ベンチャー企業由来品の占める割合

政策研ニュースNo67で、新薬創出の担い手を4つのカテゴリー別(製薬企業、ベンチャー、アカデミア、その他)に分類し、上位品目の担い手の推移を分析した⁶⁾が、今回はそのアップデートを行った(図3)。担い手の定義はニュースNo67に従った⁶⁾。ベンチャーの定義は、Evaluate Pharmaの“Biotechnology(バイオテック)”のうち、上位品基本特許優先日の年度売上高が5億ドル未満かつ企業設立日から特許優先日までの期間が20年未満の企業とし、実際の「創薬の場」を反映している出願人創出機関で集計した。

2008年の上位品目のうち、特許出願時の企業分類が、製薬企業83品目、ベンチャー11.5品目、アカデミア4.5品目、その他1品目だったものが、経年とともに製薬企業の割合が減少し、ベンチャーの割合が増加したが、2014年以降は大きな変化は見られず割合が一定しており、2023年は製薬企業77品目、ベンチャー19.5品目、アカデミア3.5品目となり、製薬企業の割合は全体の3/4以上、ベンチャーの割合は2割を切った。

EBP由来品の医薬品開発が急激に伸び始めたのが2015-16年以降であり、承認日からランクインまで平均5年弱要する⁷⁾ので、2023年時点でベンチャー由来品は製薬企業由来品に比べて増加することが予想されたが、売上上位品目はそれほど増えていない。前回の調査⁶⁾で、売上高上位品目の担い手としての「ベンチャー」起源医薬品割合と、世界の医薬品開発の担い手としてのEmerging Biopharma(EBP)比率に相違があることがわかっていたが、今回もその傾向は続いている。

2. 調査方法にも記載したように、各品目の基本特許は、出願された時点でその当該特許に記載

6) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍-2021年の動向-」政策研ニュースNo.67(2022年11月)

7) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業国籍調査を振り返る-品目数の動的推移や創薬の担い手の観点から-」政策研ニュースNo.64(2021年11月)

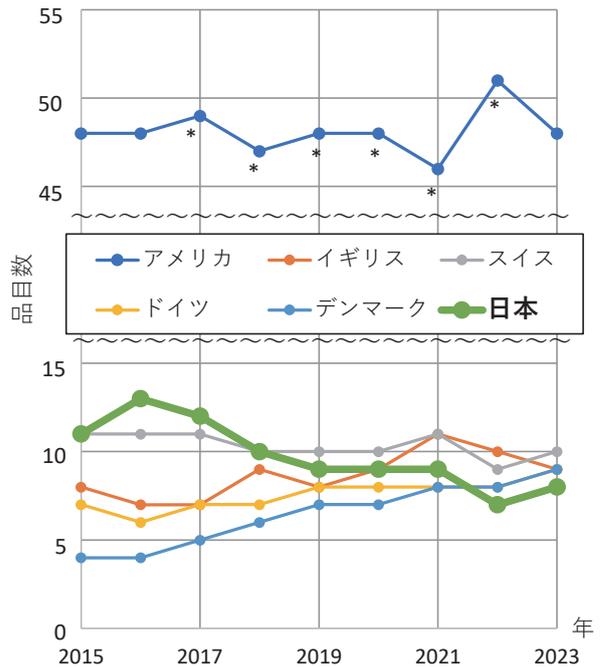
されている機関であり、その後の開発や販売を請け負った機関ではない。ベンチャー企業は、その成り立ちから独自の強みを生かしたかたちでの創薬を志しており、ライセンスやMAなどにより薬を世に出すことが第一優先であるという側面があるのかもしれない。今後もうしばらく推移を見守る必要があるだろう。

3-1-4. 医薬品創出企業の国籍別医薬品数年次推移

本章以降では再び3-1-1同様の基準、すなわち、各医薬品における基本特許を調査し、出願時の企業国籍を医薬品創出企業の国籍（親会社の国籍）と定義したうえで解析を行った。

今回の調査でも2003年以降の調査結果同様、アメリカが最大の医薬品創出国であった。前年調査で3番手のスイスが今回1増で単独の2番手となった一方、前回2番手のイギリスが1減となり、今回それぞれ1増ずつのドイツおよびデンマークとならんで3位タイとなった。日本も今回1増ではあるが、ドイツ、デンマークともに増えたので、順位としては6位のままであった（図4、表1）。ドイツ、デンマークは、徐々に上位ランクイン数

図4 医薬品創出企業の国籍別医薬品数年次推移（上位6か国）



*特許情報見直しにより修正。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

表1 医薬品創出企業の国籍別医薬品数年次推移

企業国籍	年											
	2003	2008	2013	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
アメリカ	40	44	47	48	48	49*	47*	48*	48*	46*	51*	48
スイス	10	12	15	11	11	11	10	10	10	11	9	10
イギリス	14	9	8	8	7	7	9	8	9	11	10	9
ドイツ	4	6	7	7	6	7	7	8	8	8	8	9
デンマーク	4	2	4	4	4	5	6	7	7	8	8	9
日本	12	13	8	11	13	12	10	9	9	9	7	8
ベルギー	1	1	2	2	2	2*	2*	2*	2*	2*	2*	2
フランス	5	4	2	3	3	3	3	3	2	2	2	1
スウェーデン	6	6	2	2	2	2	2	2	2	1	1	1
イタリア	1	0	1	2	2	0	1	1	1	1	1	1
ハンガリー	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	1
オーストラリア	0	1	1	0	0	0	1	1	1	0	0	1
イスラエル	0	1	2	1	1	1	1	1	1	0	0	0
ルクセンブルク	1	1	1	1	1	1	1	0	0	0	0	0
カナダ	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
ユーゴスラビア	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

*特許情報見直しにより修正。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2003-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

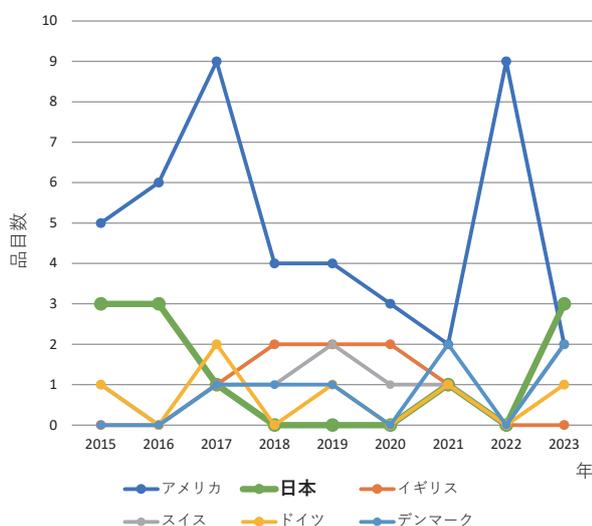
を増やしており、コンスタントに上位品目を創出してきているといえる。

3-1-5. 上位品目の新規ランクイン品目の年次推移

2023年の新規ランクイン数（再ランクインも含む）は11品目で、2022年の9品目から2品目増加した。2015-2023年の新規ランクイン数は年平均で10.6品目であったことから2023年の新規ランクイン数は平年並みであったといえる。毎年10品目前後の入れ替えはあるものの、今年が際立って新規ランクイン数が多かったということはなかった。2023年の創出国籍上位6か国の新規ランクイン品目数は、日本がトップの3品目、続いてアメリカ、デンマーク、スイスが各2品目ずつ、ドイツの1品目と続いた。イギリスからの新規ランクインはなかった（図5）。

次に日本品目について、2015年から23年まで経時的に、順位、品目数、新規ランクイン数、ラン

図5 上位品目の新規ランクイン品目の年次推移（上位6か国）



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

表2 日本由来医薬品数年次推移

年	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
順位	2T	2	2	2T	3	3T	4	6	6
品目数	11	13	12	10	9	9	9	7	8
新規ランクイン数	3	3	1	0	0	0	1	0	3
ランクアウト数	0	1	2	2	1	0	1	2	2
差し引き	+3	+2	-1	-2	-1	0	0	-2	+1

注：順位 Tはタイ（同順位が複数）を表す。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2014-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

クアウト数、その差し引きを表にまとめた（表2）。その結果、2022年までは断続的に順位と品目数が低下し、上昇することはなかった。新規ランクイン品目があったのは2021年以来であったが、3品目同時ランクインは2016年以来であった。新規ランクイン数からその年のランクアウト数を引いた差し引きにおいて、2017-2022年でプラスになることはなかったが、2023年は2016年以来7年ぶりに差し引きがプラスとなったことで、品目数がプラスに転じた。

3-1-6. 技術分類毎の国籍別医薬品数

上位品目の有効成分の技術分類（化学合成医薬品とバイオ医薬品）では、化学合成医薬品が52品目、バイオ医薬品が48品目となっており⁸⁾、前回の調査（それぞれ55品目、45品目⁹⁾よりバイオ医薬品が3品目増加した。バイオ医薬品は2008年に統計を取り始めてから最多となった¹⁰⁾（図6）。

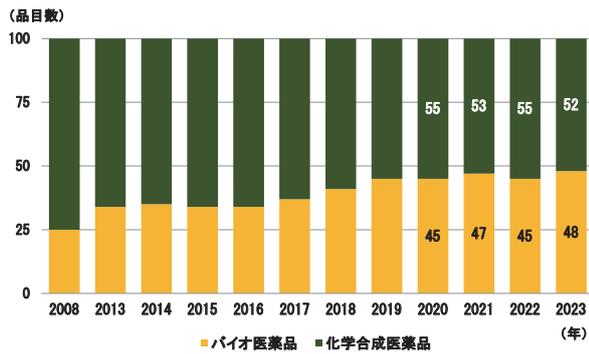
国籍別医薬品数は、化学合成品では1番手アメリカ30品目、2番手ドイツ6品目、3番手は日本とイギリスで5品目であった（図7）。バイオ医薬品は、1番手アメリカ18品目、2番手デンマーク9品目、3番手スイス8品目であった（図8）。日本は前年からバイオ医薬品数が1増⁹⁾であった。技術分類は企業国籍によってその内容が大きく異なっており、アメリカ、イギリス、日本は化学合

8) 核酸・CART・細胞治療は上位品目にランクインしていない

9) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍-2022年の動向-」政策研ニュースNo.71（2024年3月）

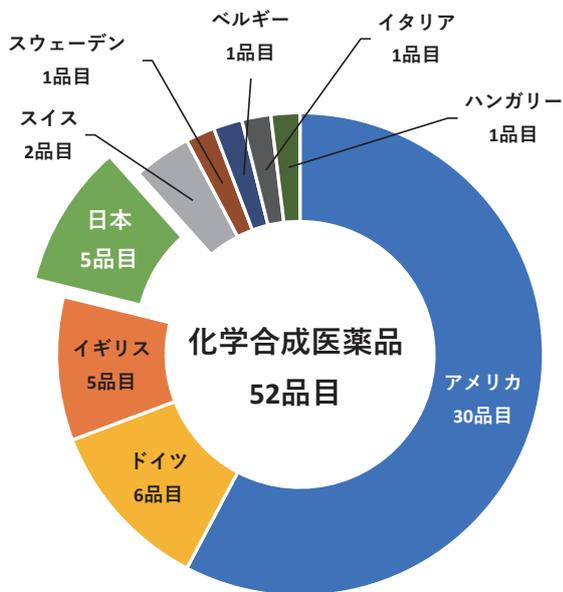
10) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍-2020年の動向-」政策研ニュースNo.64（2021年11月）

図6 上位品目の技術分類別推移



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2008-2023, Evaluate Pharma® (2024年11月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

図7 医薬品創出企業の国籍別医薬品数 (化学合成医薬品：52品目)



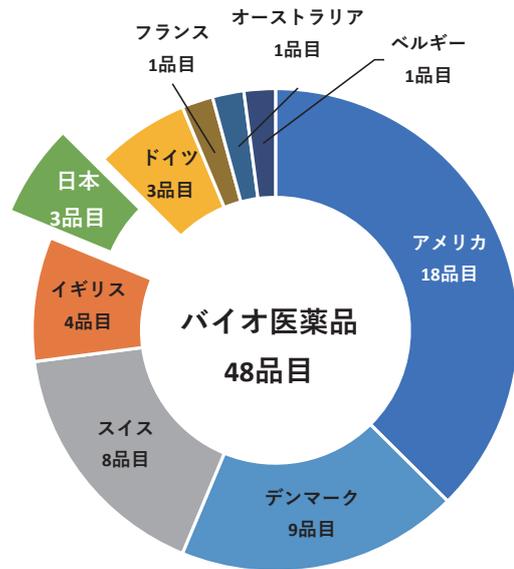
出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligence をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

成医薬品が優位であった一方、スイス、デンマークはバイオ医薬品が優位であった。

3-1-7. ATC 薬効分類

上位品目の薬効分類(ATC 1st level)をみると、抗悪性腫瘍薬・免疫調節剤(L)が前年より1品目減少し34品目となったが、依然として最も多

図8 医薬品創出企業の国籍別医薬品数 (バイオ医薬品：48品目)



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligence をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

図9 上位品目の薬効分類 (品目数)



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

った。続いて消化器官用剤及び代謝性医薬品(A)が19品目で前年より1品目増加、一般的全身用抗感染剤(J)が13品目(前年より2品目増加)、呼吸器系(R)が10品目(前年と同じ)と、中枢神経系用剤(N)が8品目(前年より1品目低下)と続いた(図9)。

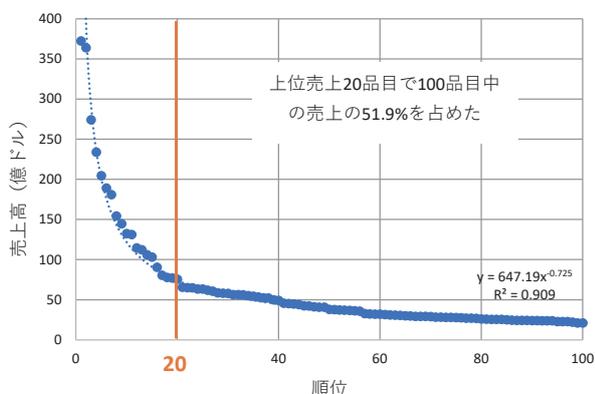
3-2. 上位品目売上動向

3-2-1. 上位品目の概要

IQVIA World Review Analyst 2023³⁾ による2023年医薬品市場は1兆5,996億ドルで、前年⁹⁾から8.1%増加した。上位100品目の売上高合計は6,198億ドルであり、全体に占める割合は約39%であった。世界売上第100位品の売上高は21.1億ドルで前年比5.9%増であった。さらに上位売上20品目で100品目中の売上の51.9%を占めた。売上高は上位20位以上が急激に増加していた(図10)。

近似式は $y = 647.19x^{-0.725}$ ($R^2 = 0.909$) となり、売上の対数値とそのランクの対数値は、直線的な負の関係にあり、明確に Power law (冪乗則) が成立していた。推計結果によると、売上ランクが1位から2位、2位から4位、4位から8位に低下すると、それぞれ売上額は60%に低下し、1位と比較して8位は約20%の大きさに売上は大幅に低下する関係が成立していた。

図10 売上高と順位

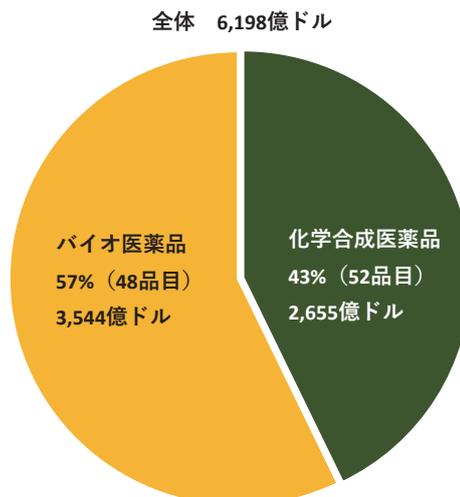


出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

3-2-2. 技術分類ごとの売上

上位品目の有効成分の技術分類（化学合成医薬品とバイオ医薬品）別売上高は、バイオ医薬品は3,544億ドルで上位品の57%を占め（図11）、前年より2ポイント上昇した。2019年の段階でバイオ医薬品が化学合成医薬品の売上高を上回り¹⁰⁾、その後、売上高比率は上昇し続けている。

図11 技術分類ごとの売上高



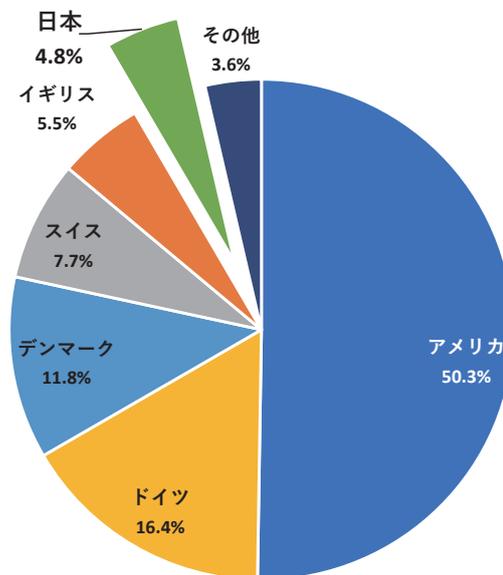
注：%は上位品目売上高に占める割合。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

3-2-3. 上位品目の世界売上高合計に占める国籍別割合

上位品目の世界売上高合計に占める国籍別割合を図12に示す。上位品目の売上高においてアメリ

図12 上位品目の世界売上高に占める国籍別割合



注：%は上位品目売上高に占める割合。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

カが50.3%を占め前年比約2ポイント減であった。次にドイツ(16.4%)、デンマーク(11.8%)、スイス(7.7%)、イギリス(5.5%)と続き、日本は4.8%であった。ドイツ、デンマークは、ランクイン品目数がそれぞれ9品目ずつと、スイス(10品目)、イギリス(9品目)、日本(8品目)と比較して、大差なかったにもかかわらず、上位品目の国籍別売上高においては、その占める割合が相対的に高くなっている。日本は8品目で5%であった。先に述べたように、上位売上20品目で100品目中の売上の51.6%を占めるが、ドイツは上位20品内に5品目、デンマークは2品目ランクインしたことがその要因であろう。

3-2-4. ATC 薬効分類

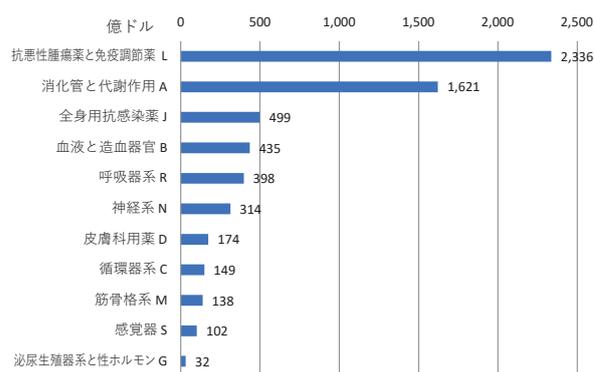
上位品目の薬効分類別の売上高において、抗悪性腫瘍薬・免疫調節剤(L)が2,336億ドルと最も多く、前年よりも約266億ドル増加し、次が消化管と代謝作用(A)で1,621億ドルであった(図13)。

薬効分類別の売上高の2015年から2023年までの年次推移を追った。消化管と代謝作用(A)および抗悪性腫瘍薬と免疫調節剤(L)の売上は、2015年はそれぞれ500億ドルおよび895億ドルだったが、2023年はそれぞれ1,621億ドルおよび2,336億ドルとなり、売上高において高い成長を示した。

各年の売上高に占める比率は、2015年から2023年まで8年連続でL分類がトップであり、2023年の全売上高に占める割合は37.7%であった。ただしその比率は2021年の39.2%を境に低下していた。その一方A分類は、2017年の17.9%から毎年上昇を続けた。2015年が16.6%でJ領域(全身性抗感染薬)より低く、2016年には15.7%と約1ポイント低下したが、それ以降は右肩上がりに上昇を続けた。とくに2022年から2023年にかけては3.3ポイントと大幅増で、全売上の26.2%を占めるに至った(図14)。

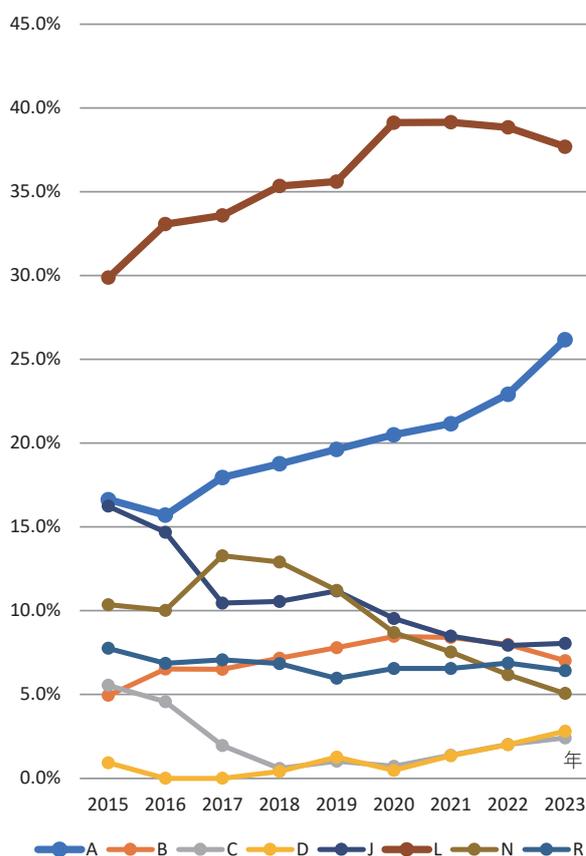
2015年の売上は、2015年から2023年の8年間における各領域の年平均成長率(CAGR)では高い順にD分類(皮膚科用薬、25.9%)、A分類(15.9%)、B分類(血液と造血器官、14.4%)、L分類(12.7%)となっており、これらの分類で全成長率

図13 上位品目の薬効分類(売上高)



出所: Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)。

図14 上位品目の薬効別売上高に占める割合の推移



注: A 消化管と代謝作用、B 血液と造血器官、C 循環器系、D 皮膚科用薬、J 全身用抗感染薬、L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節剤、N 神経系、R 呼吸器系。

出所: Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2015-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)。

表3 売上上位品領域別詳細

	CAGR (2015-2023)	2023年売上の 高い疾患	MOA
D 皮膚科用薬	25.9%	乾癬	抗IL-23関連
A 消化管と代謝作用	15.9%	肥満、ダイア ベティス	後述
B 血液と造血器官	14.4%	血栓	DOAC
L 抗悪性腫瘍薬と 免疫調節薬	12.7%	1. 免疫調節薬 2. 抗悪性腫瘍薬	免疫調節薬では 抗サイトカイン等
全体	9.5%		

注：DOAC：direct oral anticoagulant

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

(9.5%) を上回っていた。2023年での売上上位品の各薬効分類における主な対象疾患は、D分類では乾癬、A分類では肥満とダイアベティス、B分類では血栓症であった。L分類では免疫調節薬の売上が最も多く、抗悪性腫瘍薬の売上を上回っていた（表3）。

3-2-5. 国籍別 ATC 薬効分類別医薬品売上

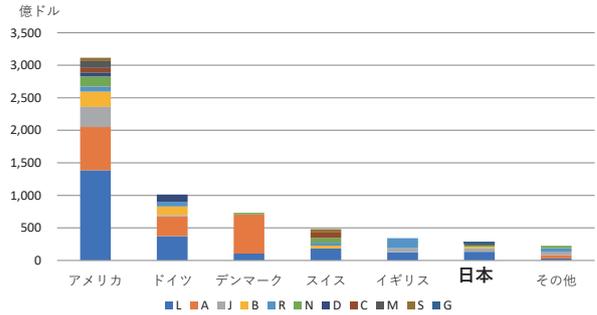
3-2-2. で述べたように、ランクイン数では近いスイス（ランクイン数10）、ドイツ（同9）、デンマーク（同9）、イギリス（同9）、日本（同8）が、売上比率では、ドイツ（16.4%）、デンマーク（11.8%）が大きく、スイス（7.7%）、イギリス（5.5%）、日本（4.8%）が小さくなっている。

この要因がどこにあるのかを解析するために、上位品目に対する薬効領域別売上を解析した。その結果、ドイツはLおよびA分類の売上が多く、それ以外の薬効分類品目でもある程度売上があった（図15）。

ドイツのL分類での売上比率は36.7%であった。またA分類における売上比率は30.1%で、全体の売上に対するA分類に占める割合である26.2%より高かった。デンマークでは、A分類の売上比率が82.1%と非常に高かった、一方L分類は14.5%と上位6か国で最低であった（表4）。

次にLおよびA分類について国別の売上を比較した。図16にATC分類別の売上を示した。売上の多寡はあるものの、上位6か国ではいずれの国

図15 上位品目の世界売上高に占める国籍別薬効別売上



注：A 消化管と代謝作用、B 血液と造血器官、C 循環器系、D 皮膚科用薬、G 泌尿生殖器系と性ホルモン、J 全身用抗感染薬、L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬、M 筋骨格系、N 神経系、R 呼吸器系、S 感覚器。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligence をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

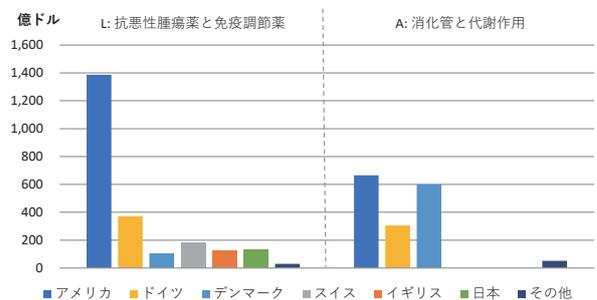
表4 上位品目の世界売上高に占める国籍別薬効別売上比率

	アメリカ	ドイツ	デンマーク	スイス	イギリス	日本	その他	合計
A分類	21.4%	30.1%	82.1%	0.0%	0.0%	0.0%	22.9%	26.2%
L分類	44.5%	36.7%	14.5%	38.0%	36.8%	45.1%	13.4%	37.7%

注：A 消化管と代謝作用、L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬。

出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligence をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

図16 上位品目の世界売上高に占める薬効別国籍別売上



出所：Copyright© 2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2024年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligence をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

表5 消化管と代謝作用（A）における売上上位品 MOA

MOA	化合物数	売上（億ドル）
GLP-1 AGONIST	4	783
SGLT2 INHIBITOR	2	304
HUMAN INSULIN ANALOGUES	5	275
DPP-IV INHIBITOR	3	119
その他	4	141
総計	18	1621

出所：Copyright©2025 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma®（2024年11月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

でもL分類で売上があったが、その中でデンマークは一番売上が低かった。その一方A分類では、デンマークはアメリカに比肩するほどの売上を上げていた一方、日本、スイス、イギリスは、このA分類での上位品目がなく、その売上がゼロとなっていた。

次にA分類での売上を mode of action（MOA）別にみた（表5）。GLP-1 agonistとSGLT2 inhibitorで、全体の売上の7割近くを占めていた。GLP-1 agonist, SGLT2 inhibitor, human insulin analogues および DPP-IV inhibitor は、アメリカ、デンマーク、ドイツで独占していた（日本、イギリス、スイス以外の国もなし）。

4. まとめ、考察

4-1. 上位品目数動向

日本の医薬品創出企業の上位品目数が2017年をピークに年々減り続け、2022年は統計を取り始めてから最少タイの7品目となった⁹⁾。しかしながら2023年はランクイン数が8品目となり、2016年以来8年ぶりにランクイン数が増加した（図1）。また再ランクインを含む新規ランクイン数が3品目（図5）と、2015年からの集計で初めて、すべ

ての国の中で最多となった。医薬品市場の拡大により、少なくとも前年度の売上を超えないとランクアップできないため、再ランクインであっても同様にカウントしている。

前年アメリカが9品目の新規ランクインを果たしているため本年は新規ランクイン数が低下したことによるなどの、一時的な現象である可能性もあるが、それでも減少傾向が続いていた日本のランクイン品目数が増加に転じたこと、新規ランクイン数がトップになったこと（表2、図5）、さらにはバイオ品がランクインしたことなど、上位品目調査では久しぶりの明るい話題となった。

前回の報告でも指摘⁹⁾したが、上位品目へランクインするために新薬を生み出し続けることは必要条件ではあるが、上位品目になるためにはその薬剤の持つポテンシャル以外に、海外特にアメリカでの展開力や販売力などが影響する。そのため一概にグローバル承認数が多ければ上位品目の新規ランクイン数が増えるとは限らない。ただ、創薬大国のアメリカや欧州各国はグローバル承認を近年でも維持し続けている一方で、日本のみが低下している¹¹⁾。上述のようにラインクイン数の増加に必要な要素はいろいろあるが、ランクイン数を上げるためには、日本由来のNME数を増やしていくことが必要である。ランクインのためには、創出することと、よく売れることの2条件が必要だが、研究段階ではどんな薬が売れるか分からないため、広く種をまくことでシーズ数を増やすことは重要だろう^{12, 13)}。

技術分類においては、2016年から8年ぶりに日本のバイオ品が新規にランクインしたため、日本由来のバイオ品の数が3品目となった（図8）。バイオ品が増加したことについて、2016-2022年でグローバル承認された品目は6品目と欧州各国と比べて遜色ないレベルであった¹¹⁾。その一方で、対アメリカでは大きく引き離されていること、日本

11) 医薬産業政策研究所「日米欧NME 承認品目の特許創出機関の国籍 - 日米欧における新規有効成分含有医薬品の承認品目での比較 -」政策研ニュース No.70（2023年11月）

12) R. L. Ohniwa et al. The effectiveness of Japanese public funding to generate emerging topics in life science and medicine, PLoS One, Aug 17, 2023

13) F. M. Scherer et al. Technology policy for a world of skew-distributed outcomes, Res. Policy, 29, 559-566, 2000

はバイオ品研究に対する出遅れなどが指摘されていること、さらには、今年度売上上位品目における101位以下を見ても日本由来のバイオ品目数が多いとは言えない。これらのことから、増加を手放しで喜べるものではなく、2023年の解析から見られた現象が一過性のものなのか否かは今後の動向を引き続きウォッチしていく必要がある。

欧州に目をやると、ドイツ、デンマークが右肩上がりに上位ランクイン数を増やしていることから、コンスタントに売上につながる品目を創出している国といえる。技術分類で見た時に、デンマークは特にバイオ品が強く薬効分類としてA分類に偏っており特化型といえる。一方、ドイツは化成品が多く、薬効分類に偏りがなくジェネラル型といえる。これらの国のエコシステムを詳細に研究することも、日本の創薬エコシステム構築の一助になると考えられる。

4-2. 上位品目売上動向

3-2-1. でも記載したように、2023年の医薬品市場は1兆5,996億ドル前年から8.1%増と、医薬品市場は2023年度も堅調な伸びを示した。上位品目の全体に占める割合も継続的に増え続け2023年度は全体の4割弱に達し、それに伴い第100位の売上も上昇し、22億ドル以上の売上がないと上位100品目に名を連ねることはできなくなり、ランクインのハードルがますます上がった。また、図10にみられるように、イノベーションの成果が少数のトップ製品に集中する傾向があるというPower lawが医薬品の売上においても成立しており^{13, 14)}、大きなアンメット・ニーズを有効に満たす高い革新性のある新薬創製、特許保護等を活用した先行優位性の発揮、上市市場の拡大の累積的な効果、適用疾患の拡大、供給における規模の経済、新薬の改良努力などが相乗的に機能して、少数の大ヒット薬に使用が集中することにより新薬市場の大きな部分(上位20品目で100品目の売上の約5割)を

供給する形になっていた。

上位品目の売上に占める国籍別割合では、日本は4.8%と、品目数の占める割合8% (= 8品目)を下回っていた。一方上位品目に占める割合は、ドイツは16.4%、デンマークは11.8%で、品目数に占める割合より高かった(図12)。ATC分類A(消化管と代謝作用)では、アメリカ、ドイツ、デンマークの売上が大きい一方、日本、スイス、イギリスはゼロであった。L分類では、アメリカ、ドイツの売上は高いが、それ以外の国では大差なかった(表4)。これらのことから、近年売上比率上昇の著しいA分類、とりわけダイアベティス治療薬と抗肥満薬の有無が、国籍別割合に影響していた可能性が高い。

A分類において、今回売上上位に上がっている品目のうちGLP-1 agonistやSGLT2 inhibitorの基本特許出願年は2000年代中頃から2010年代半ばであった。肥満に関しては、アメリカでは2000年代前半ですでに20歳以上のBMI30以上の割合は男女ともに25%を超えており¹⁵⁾、2023年時点で30%を超え、その増加に歯止めがかからず、深刻な社会問題となっている¹⁶⁾。欧州各国でもアメリカほどではないが肥満は社会問題化しているため抗肥満薬への社会的要請が高かったように思われる。アメリカドクトカゲの唾液成分の医薬品への適用から始まったインクレチン類似薬開発競争の中で、アメリカとデンマークがその長時間作用型で強薬効を示す薬剤の開発に成功し、一歩抜け出す形で現在に至っていると推察される。

一方日本の状況について、肥満率は欧米ほど高くなく、それほど社会問題化していなかった。今でもそうであるが、当時も日本の創薬研究の主体は日本にHQのある製薬メーカーであり、そのために肥満治療薬開発の優先順位はあまり高くなかった可能性がある。また、2010年前後から新薬開発難易度の上昇、ジェネリック市場の形成、バイオ技術の導入などから、国内製薬メーカーの

14) H. G. Grabowski et al. Returns of R & D on new drug introductions in the 1980s, J. Health Econ., 13, 383-406, 1994

15) 日本肥満学会「肥満症治療ガイドライン2022」2022年 一般社団法人日本肥満学会

16) CDC HP : <https://www.cdc.gov/obesity/index.html>

創薬トレンドとして、ダイアベティスなどの大規模国際共同治験を必要とし多大な開発および販売コストを要するような疾患から、患者層を絞って早く臨床試験結果が出るような癌や希少疾患などにシフトしていった^{17, 18)}。そのため日本では抗肥満薬が適応するような疾患に対する治療薬の開発が欧米大手に比べて後手に回った可能性が考えられる。実際に、2013年以降に承認された日本由来のL分類におけるグローバルNME品は多数創出している一方、ダイアベティス治療薬を含むA領域の承認品目数は15品と、他の薬効分類と比べて少なくはないが、ローカル品の割合が非常に高くなっているという特徴がある(未公開データ)。その中にはSGLT2 inhibitorやDPPIV inhibitorなども含まれているが、付加価値を見出せない結果として、大規模国際治験は回避していたように見える。

最後に

多数の魅力ある製品を作り出す根源は地道な基礎研究の積み重ねとその実装であり、近年日本アカデミアの存在感低下や、産学官の創薬に対する意識のギャップなどから成果が生かされないことが指摘されている^{19, 20)}。特許出願時の研究が上位品目として開花するまでには15年以上の年月が必要であるが、今から15年後のトレンドを予測することは不可能である。サイエンスの進展等に不確実性が高い中で今後のイノベーションの機会を効果的に新薬創製に活かすためには、研究助成の評価は事前にはではなく、うまくいった少数について事後的に評価すればよい¹³⁾。そのような観点からの基礎研究力強化とその成果の創薬応用への施策にも期待したい。

-
- 17) 小原久美子「日本製薬企業の新たなビジネスモデル構想と組織変革のリーダーシップ」日本経営学会誌【経営学論集第86集】(33)-1-(33)-9 2016年7月
18) 国内大手製薬メーカー各社プレスリリース参照
19) 医薬産業政策研究所「研究力から見た日本のアカデミアの現状」政策研ニュース No.71 (2024年3月)
20) 医薬産業政策研究所「日米欧創薬におけるサイエンスの貢献：特許と論文のマッチトデータからの示唆」政策研ニュース No.71 (2024年3月)

NDB オープンデータでみた糖尿病関連の 特定健診データ・処方薬の推移

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治

要約

- 2022年の「健康日本21（第二次）」の調査結果では、国内の糖尿病が強く疑われる者は増加傾向だが想定よりも少なく、血糖コントロール不良患者は減少傾向にあった。
- 日本透析医学会は近年糖尿病性腎症による透析導入の割合は減少傾向にあると公表している。
- これらの糖尿病疫学研究結果を受けて、2015～2022年度のNDBオープンデータから、HbA1c、尿蛋白、BMI高値群の割合推移と、糖尿病の病態、合併症に応じて学会が推奨する糖尿病用剤等の処方薬の割合推移を分析した。
- 特定健診受診者の割合分析の結果、HbA1c 8%以上の割合は年約1%程度の増加、尿蛋白2+以上の割合は年約2%の減少、BMI30以上の割合は年約5%の増加であった。
- 処方薬の割合分析の結果、日本糖尿病学会、日本腎臓病学会のガイドラインで糖尿病性腎症に推奨されているSGLT2阻害薬、GLP1受容体作動薬の増加が著しく、糖尿病性腎症による透析導入の減少との関係が示唆された。
- 上記両剤は、肥満を伴う2型糖尿病にも推奨されており、高度肥満の増加が示唆される中、今後の糖尿病用剤選択の傾向変化、処方動向をより注目する必要がある。

1. はじめに

2022年に「健康日本21（第二次）」の最終評価報

告書¹⁾が厚生労働省より公表された。調査の最終評価年は2019年（令和元年）であり、「主要な生活習慣病の発症予防と重症化予防の徹底に関する目標」の対象疾患である、がん、循環器疾患、糖尿病、COPDで目標達成度が検証された。糖尿病有病者数の推計は、これまで国民健康・栄養調査の大規模調査年に推計に基づき推計されてきたが、新型コロナウイルス感染症流行により2020、2021年の国民健康・栄養調査が中止となった。そのために2016年以降のデータ更新がなく評価困難と判定されたが、本来の推計方法の代替案として大規模調査年以外の年も含めた「国民健康・栄養調査」データを用い2019年の糖尿病有病者数を厚生労働科学研究において推計した結果、2019年の「糖尿病が強く疑われる者」の人数は約1,150万人と推計された（図1）。これは2019年の目標値である1,000万人と目標策定時の予測数値の1,270万人の間を示し、改善傾向にはあるが目標とする数値への抑制は難しいという評価内容であった。対して、特定健診データにおける血糖コントロール不良者（HbA1c：JDS値 \geq 8.0%、NGSP値 \geq 8.4%）の割合は、2019年は0.94%と、2009年1.2%から改善し、2022年目標値である1.0%も下回っていると評価した（図2）。

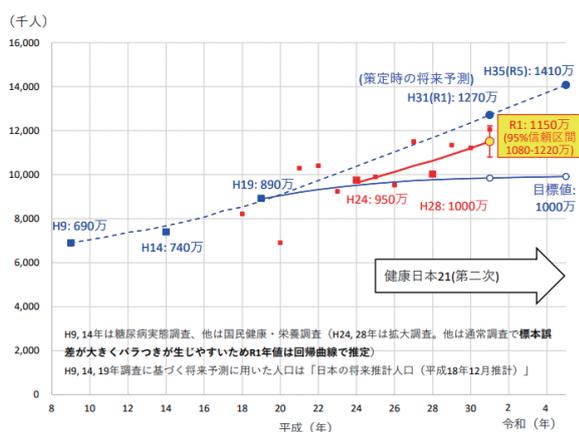
また、同報告書¹⁾では「メタボリックシンドローム該当者及び予備群」は2008年から2019年にかけて約100万人増加したと推計しており、糖尿病をはじめとする生活習慣病等の発症リスク保有者が増

1) 厚生労働省ホームページ、「健康日本21（第二次）最終評価報告書」2022.10
https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_28410.html

加していることが示された。

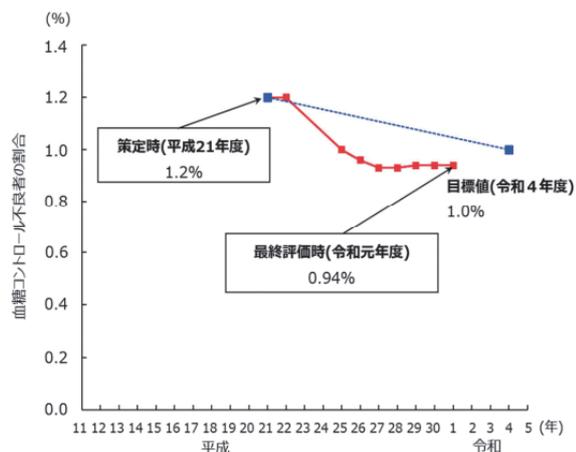
日本透析医学会は「わが国の慢性透析療法の現況」²⁾として、人工透析患者に関する情報を年次報告しており、健康日本21最終評価報告書もこれらのデータを引用している。2023年末の透析医学会

図1 糖尿病が強く疑われる者の平成9年、14年、19年調査に基づく策定時の将来予測（点線）、目標値（細い実線）、平成24～令和元年調査に基づく令和元年推計（太い実線）



厚生労働省 健康日本21（第二次）最終評価報告書 第3章（2022）

図2 血糖コントロール不良者の割合の推移

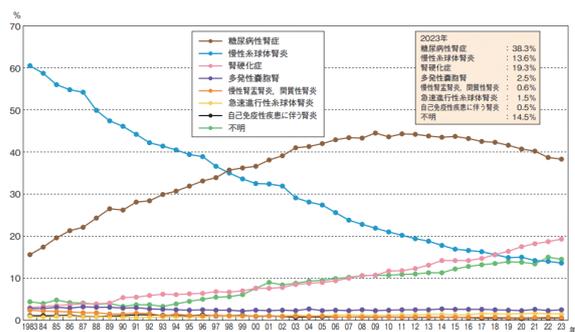


厚生労働省 健康日本21（第二次）最終評価報告書 第3章（2022）

の報告によると、透析患者数は2021年まで緩徐な増加であったが2023年は前年より3,966人減少し、新たに透析を導入した患者数は2008年まで経年増加であったが2009年以後は増減を繰り返し、2023年は前年より919人減少したとあった（2.4%減）。「透析導入患者の動態」では、透析導入の原疾患として「糖尿病性腎症」が38.3%と最も多く、次いで「腎硬化症」19.3%、「慢性糸球体腎炎」13.6%であった。近年では、腎硬化症による透析導入に持続的な増加が目立つ一方、1998年に糖尿病性腎症が透析導入の原疾患の第1位となって以来増加の一途であったが、2015年（43.7%）前後から減少に転じていた（図3）。

これらの疫学データを前提に、2015（第2回）～2022年度（第9回）のNDBオープンデータ（以下、NDBOD）³⁾を用い、①特定健康診査（以下、特定健診）データから、HbA1c、尿蛋白、BMIそれぞれの高値群の割合推移 ②処方薬データから、日本糖尿病学会「糖尿病診療ガイドライン2024（以下、糖尿病診療GL）」⁴⁾の“糖尿病性腎症”、“肥満を伴う糖尿病”に、また、日本腎臓学会「エビデンスに基づくCKD診療ガイドライン2023（以

図3 透析導入患者 原疾患割合の推移 1983～2023



出典：一般社団法人 日本透析医学会 わが国の慢性透析療法の現況 2023年末の慢性透析患者に関する集計 第3章 2023年透析導入患者の動態

2) 一般社団法人 日本透析医学会、「わが国の慢性透析療法の現況 2023年末の慢性透析患者に関する集計」2024.12 <https://docs.jsdt.or.jp/overview/index.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>
 4) 一般社団法人 日本糖尿病学会、「糖尿病診療ガイドライン2024」2024.8
https://www.jds.or.jp/modules/publication/index.php?content_id=4

下、CKD 診療 GL)』⁵⁾の“糖尿病性腎臓病”に記載されている推奨薬、エビデンスを有する薬の処方割合の推移を提示し、疫学データが示す推移に関連しているか観察する。(BMI：body mass index、CKD：chronic kidney disease)

2. 調査方法

NDBOD 第2回～第9回を用い、男女40～74歳を対象とした「都道府県別性年齢階級別分布」の特定健診データから“HbA1c”、“尿蛋白”、“BMI”を年齢階級別に集計し、検査高値の受診者割合を算出した。処方薬数量は特定健診と同範囲の年齢階級別に、「内服_外来（院外）_性年齢別薬効分類別数量」から“糖尿病用剤”、“血压降下剤”、“利尿剤”を集計、「注射_性年齢別薬効分類別数量 外来（院内）（院外）」から“その他のホルモン剤（抗ホルモン剤を含む。）”のうち、インスリン、インスリンアナログ、GLP1受容体作動薬（以下、GLP1RAs）を集計し、ガイドライン推奨薬等の処方量割合を算出した。年平均変化率（annual percent change：以下、APC）は引用資料⁶⁾に示されている計算方法である、各年度の数値を自然対数化し線形回帰直線を導き、その係数（m）の指数値（ $\exp(m)$ ）を用いて $100 \times ((\exp(m) - 1))$ で算出した。

以下にNDBODの注意点を挙げる。①NDBOD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1,000未満の場合は「-」で表示（1,000未満の箇所が1箇所の場合は1,000以上の最小値を全て「-」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「-」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「-」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。②第2回の特定健診データは2014年度、処方薬データは2015年度でありデータの取得年度に1

年の齟齬がある。③尿蛋白は第3回から集計が始まっている。④特定健診データは2018年度以降新たに「都道府県判別不可例」が集計されているが、以前のデータと整合性を取るため除外し集計した。⑤第8回までは、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が、第9回では上位100品目・上位300品目・上位500品目が公表されたため、以前のデータと整合性を取るため、第9回は上位100品目までを集計対象とした。

3. 結果

(1) 特定健診データ

糖尿病の病勢進行のメルクマールとなる“HbA1c”高値⁴⁾、腎障害の病勢進行となる“尿蛋白”高値^{4) 5)}、糖尿病の発症・悪化リスクである“BMI”高値⁴⁾受診者の推移を、NDBODの特定健診データから40～74歳の各年齢階級で分析したグラフを示す。

[1.1] HbA1c (NGSP 値)

巻末表1-Aに各年度のHbA1cデータを取得できた特定健診受診者数と各APCを示す。データ取得受診者数のAPCは男性計、女性計ともに1.4%であった。図4に示す通り、受診者のうちHbA1c \geq 8.0%の割合は、男性計で2014年度1.8%、2021年度1.9%であり、APCは1.2%であった。女性計では2014年度0.7%、2021年度0.7%であり、APCは0.9%であった。男女とも2020年度にHbA1c \geq 8.0%の割合に増加が認められ、特に65歳以上で顕著であった。HbA1c \geq 6.5%の割合は、男性計で2014年度8.6%、2021年度9.6%であり、APCは1.8%であった。女性計では2014年度4.4%、2021年度4.6%であり、APCは1.0%であった。

[1.2] 尿蛋白

巻末表1-Bに各年度の尿蛋白データを取得できた特定健診受診者数と各APCを示す。データ取得受診者数のAPCは男性計0.9%、女性計1.2%

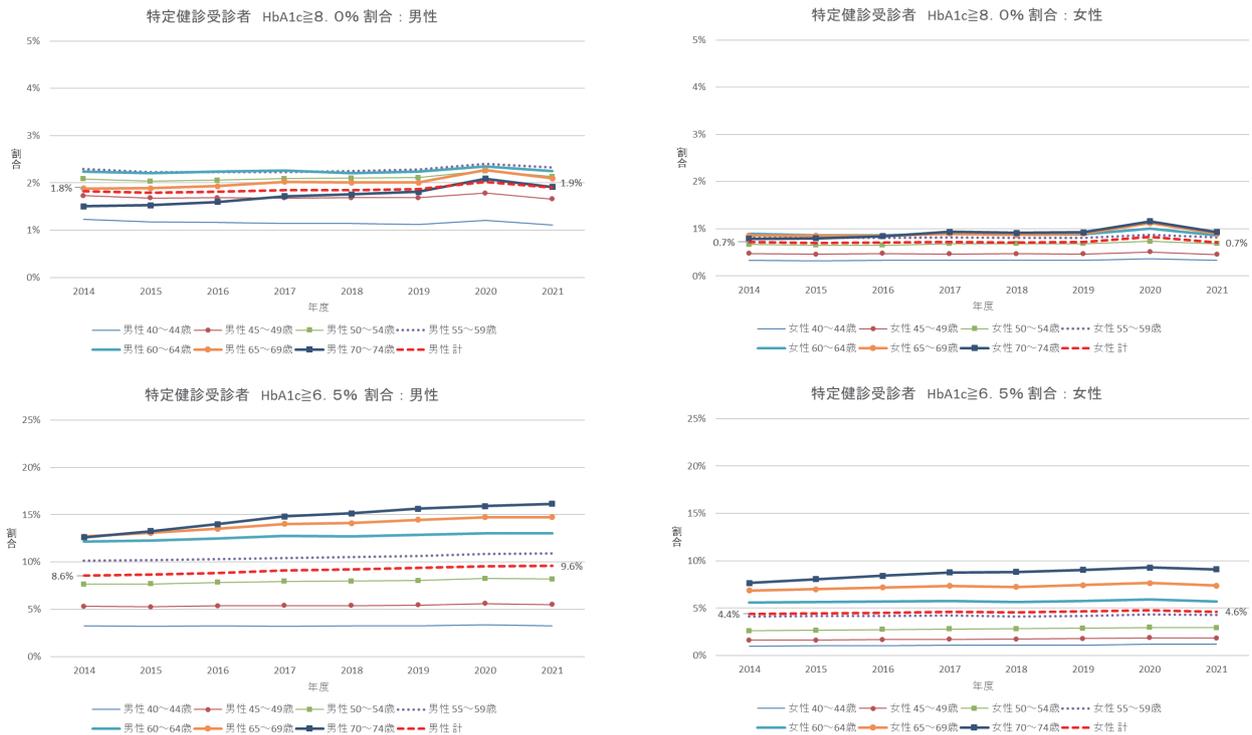
5)一般社団法人日本腎臓学会、「エビデンスに基づくCKD診療ガイドライン2023」2023.6

<https://jsn.or.jp/medic/guideline/pdf/guide/viewer.html?file=001-294.pdf>

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」2012.7

<https://oici.jp/ocr/common/images/data/data/1207tebiki2.pdf>

図4 NDB 特定健診データ：HbA1c (NGSP 値)



注) 2018年度以降は新たに「都道府県判別不可例」が集計されているが、以前のデータと整合性を取るため除外し集計した。
 出典：厚生労働省 NDBオープンデータ 第2回(2014年度)～第9回(2021年度)「特定健診 検査」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

であった。図5に示す通り、受診者のうち尿蛋白 $\geq 2+$ の割合は、男性計で2014年度1.4%、2021年度1.3%であり、APCは $\blacktriangle 1.5\%$ であった。女性計では2014年度0.5%、2021年度0.5%であり、APCは $\blacktriangle 1.9\%$ であった。尿蛋白 $\geq +$ の割合は、男性計で2014年度4.8%、2021年度4.2%であり、APCは $\blacktriangle 2.2\%$ であった。女性計では2014年度2.5%、2021年度2.2%であり、APCは $\blacktriangle 2.6\%$ であった。

[1.3] BMI (body mass index)

巻末表1-Cに各年度のBMIデータが取得できた特定健診受診者数と各APCを示す。データ取得受診者数のAPCは男性計1.2%、女性計1.5%であった。図6に示す通り、受診者のうちBMI ≥ 30 の割合は、男性計で2014年度4.8%、2021年度6.9%であり、APCは5.8%であった。女性計では2014年度3.5%、2021年度4.9%であり、APCは5.3%であった。BMI ≥ 25 の割合は、男性計で2014年度32.2%、2021年度36.8%であり、APCは2.2%であった。女性計では2014年度18.7%、2021年度21.7%であり、APCは2.4%であった。

(2) 処方薬

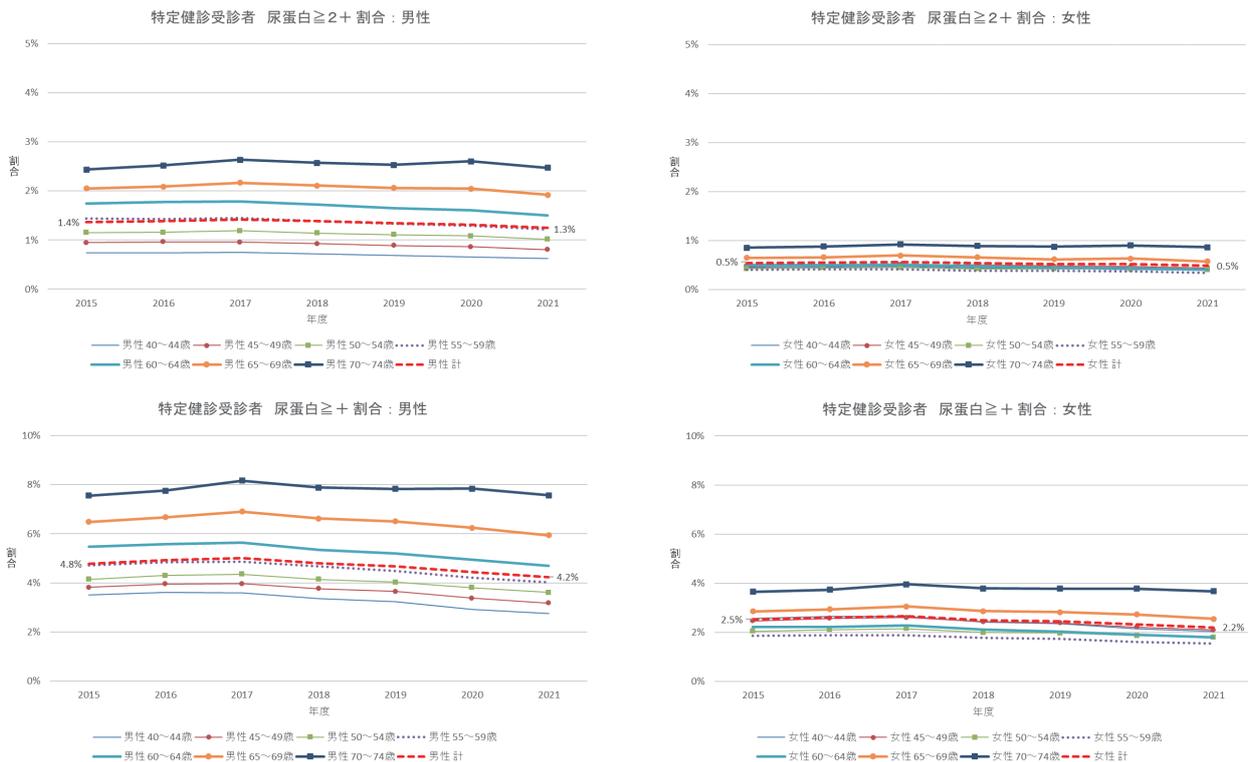
次に特定健診と同様、男女40~74歳を対象として糖尿病用剤の“SGLT2阻害薬(以下、SGLT2Is)”と“DPP4阻害薬(以下、DPP4Is)”、近年用量変更の承認を受けたmetformin、糖尿病用ホルモン剤の“GLP1RAs”、糖尿病性腎症の進行抑制に推奨されている“アンジオテンシンII受容体拮抗薬(以下、ARBs)”、“ミネラルコルチコイド受容体拮抗薬(以下、MRAs)”の処方量の割合推移をNDBODから分析したグラフを示す。

[2.1] 糖尿病用剤

巻末表2-Aに各年度の外来、院外処方の内服糖尿病用剤の処方単位数(上位100位以内品目、以下同)と各APCを示す。糖尿病用剤の処方単位数のAPCは、男性計2.7%、女性計1.3%であった。

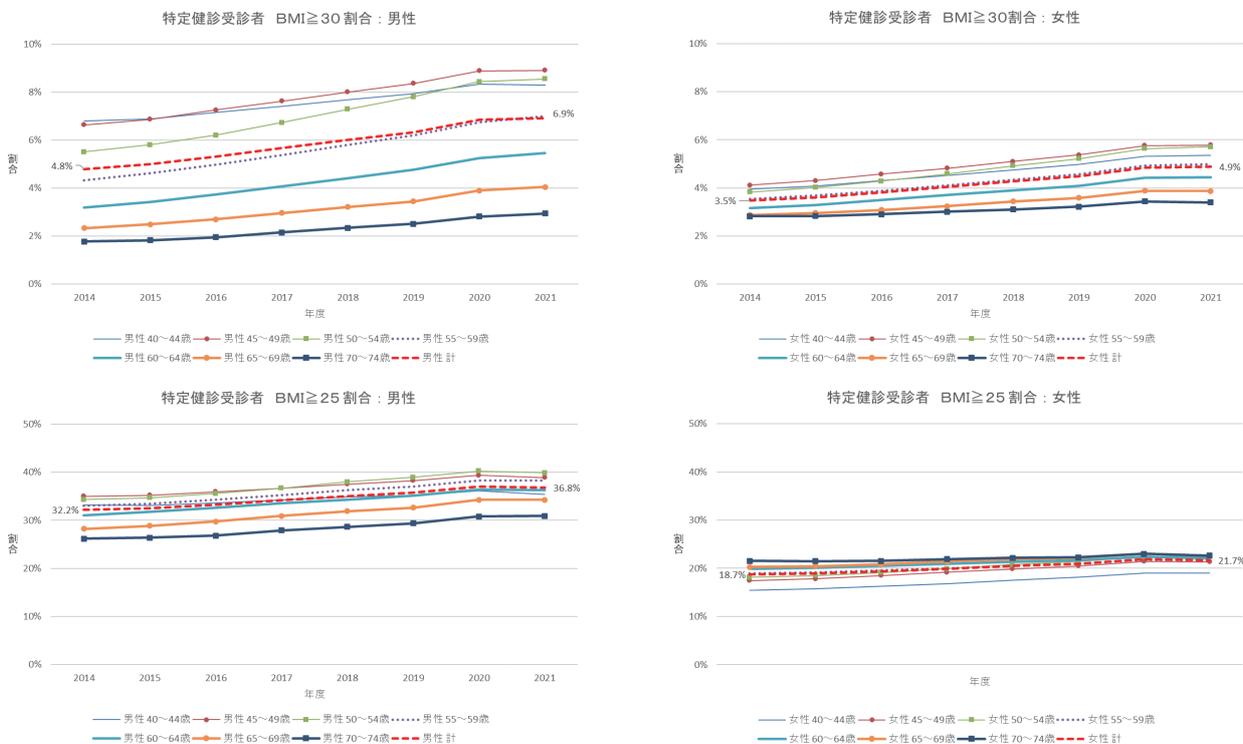
図7は糖尿病用剤のうち、SGLT2Isの処方単位数割合の推移を40~74歳の各年齢階級別に示したグラフである。なおSGLT2IsにはDPP4Isとの合剤を含んでいる。男性計で2015年度1.1%、2022年度17.4%であり、APCは42.9%であった。女性計で

図5 NDB 特定健診データ：尿蛋白



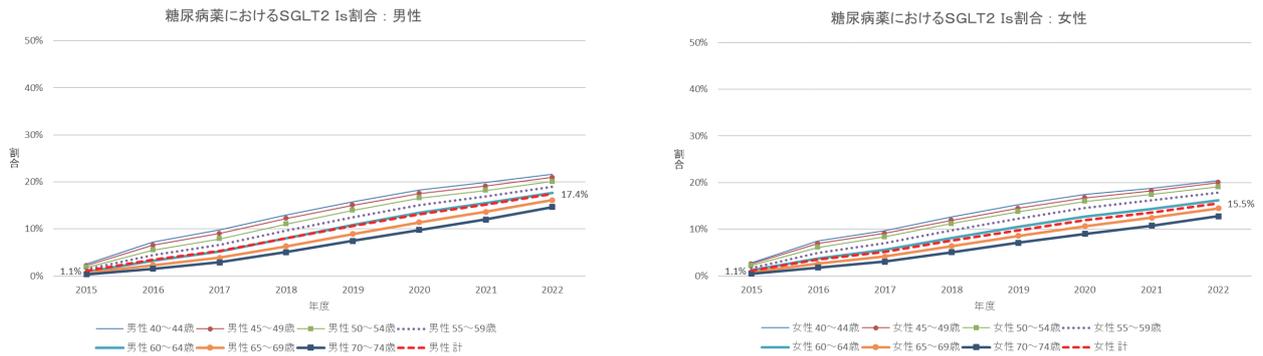
注) 2018年度以降は新たに「都道府県判別不可例」が集計されているが、以前のデータと整合性を取るため除外し集計した。
 出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第3回 (2015年度)～第9回 (2021年度)「特定健診 検査」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図6 NDB 特定健診データ：BMI



注) 2018年度以降は新たに「都道府県判別不可例」が集計されているが、以前のデータと整合性を取るため除外し集計した。
 出典：厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回 (2014年度)～第9回 (2021年度)「特定健診 検査」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図7 NDB 処方薬データ（外来院外処方）：SGLT2阻害薬／糖尿病用剤



注) SGLT2Is は DPP4Is との合剤を含む

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」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図8 NDB 処方薬データ（外来院外処方）：DPP4阻害薬／糖尿病用剤



注) DPP4Is は SGLT2Is 以外の糖尿病用薬との合剤を含む

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」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

は2015年度1.1%、2022年度15.5%であり、APCは39.4%であった。次にDPP4Isをみると（図8）、DPP4Isの割合は男性計で2015年度27.7%、2022年度24.3%であり、APCは▲2.1%であった。女性計では2015年度27.4%、2022年度25.3%であり、APCは▲1.3%であった。なおDPP4IsにはSGLT2Is以外の糖尿用剤との合剤を含んでいる。同様にmetformin単剤をみると（図9）、その割合は男性計で2015年度37.2%、2022年度39.6%であり、APCは1.0%であった。女性計では2015年度38.5%、2022年度40.7%であり、APCは1.0%であった（表2-A）。

[2.2] 糖尿病用ホルモン剤

巻末表2-Bに各年度の外来、院内外処方の注射糖尿病用ホルモン剤の処方単位数と各APCを示す。糖尿病用ホルモン剤の処方単位数のAPC

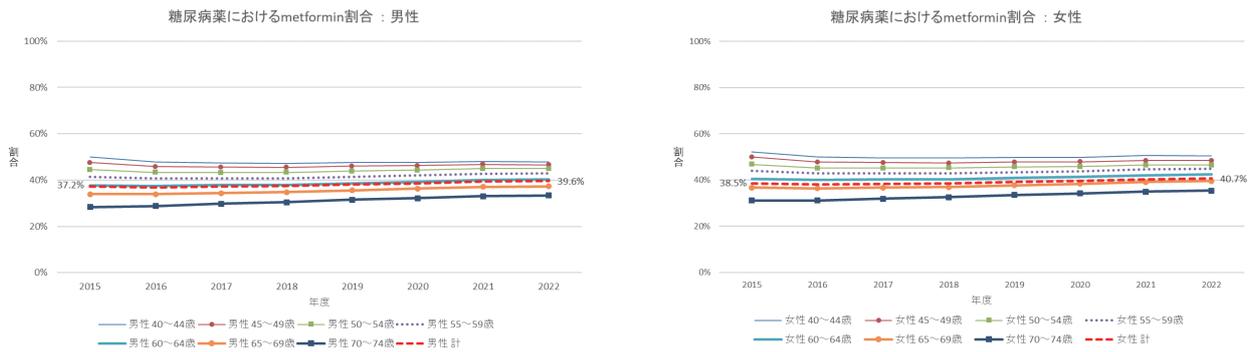
は、男性計3.3%、女性計2.4%であった。図10は糖尿病用ホルモン剤のうち、GLP1RAsの処方単位数割合の推移を40～74歳の各年齢階級別に示したグラフである。GLP1RAsの割合は男性計で2015年度4.6%、2022年度27.8%であり、APCは28.7%であった。女性計では2015年度5.4%、2022年度27.4%であり、APCは25.4%であった（表2-B）。

なお、唯一のGLP1RAs内服剤は2021年2月の発売であったが、2021年度の全規格の院外処方総量は約1,480万錠、2022年度は約6,230万錠であり、今後の処方量の変化が注目される。

[2.3] 血圧降下剤

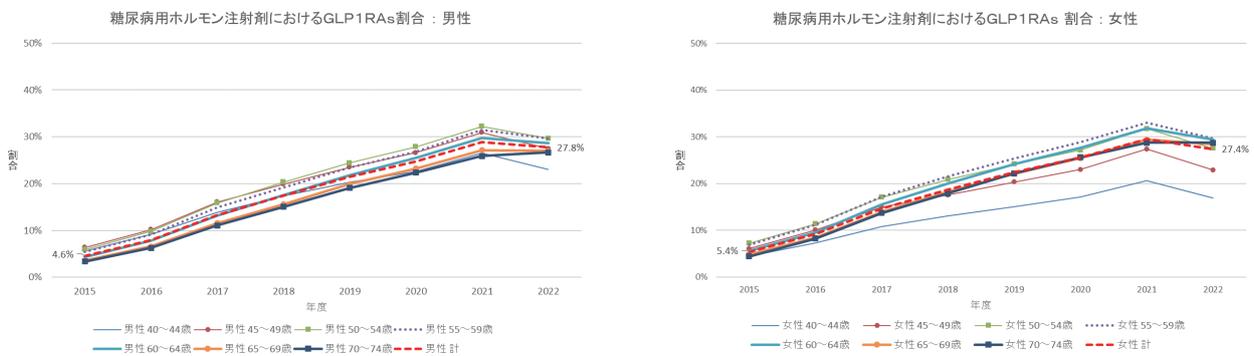
外来、院外処方の内服血圧降下剤の処方単位数（巻末表2-C）は減少傾向であり女性にその傾向が強かった（男性計APC：▲0.0%、女性計APC：

図9 NDB 処方薬データ（外来院外処方）：metformin／糖尿病用剤



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」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図10 NDB 処方薬データ（外来院内外処方）：GLP1受容体作動薬／糖尿病用ホルモン剤



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）「注射_性年齢別薬効分類別数量」（外来：院外、院内）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

▲1.3%)。図11は血圧低下剤のうち、ARBs の処方単位数割合の40～74歳の各年齢階級別に示したグラフである。なお ARBs には利尿剤、Ca 拮抗剤との合剤を含んでいる。男女とも約70%以上を占めており、割合に僅かな増加がみられた（男性計 APC：0.2%、女性計 APC：0.4%）。同様に MRAs をみると（図12、表2-C）、男性計で2015年度1.5%、2022年度3.2%であり、APCは17.4%であった。女性計では2015年度1.1%、2022年度2.7%であり、APCは19.0%であった。参考までにアンジオテンシン変換酵素阻害剤（ACEIs）とレニン阻害薬計の割合は男性3.5%前後、女性2.5%前後で推移し APC は負を示していた（表2-C）。

[2.4] 利尿剤

外来、院外処方の内服利尿の処方単位数（巻末表2-D）は増加傾向であった（男性計 APC：4.7%、女性計 APC：3.9%）。利尿剤のうち、古典

的 MRAs である spironolactone の処方単位数の割合は男女とも20%前後で推移しており、女性が減少傾向であった（男性計 APC:0.5%、女性計 APC:▲0.9%）。（図なし）

4. まとめと考察

2022年の健康日本21の最終評価報告書では、糖尿病が強く疑われる者の推計は増加傾向ではあるが、予測を下回る数値であったとされ、糖尿病患者におけるコントロール不良の患者割合の増加は抑制されていたと報告された。また、日本透析医学会の2023年「わが国の慢性透析療法の現況」では透析導入の原疾患は依然として糖尿病性腎症が最も多いが、近年その割合は減少傾向にあると報告された。

このような疫学的背景を前提に、第一に40～74歳を対象に罹病の有無を問わず生活習慣病予防、

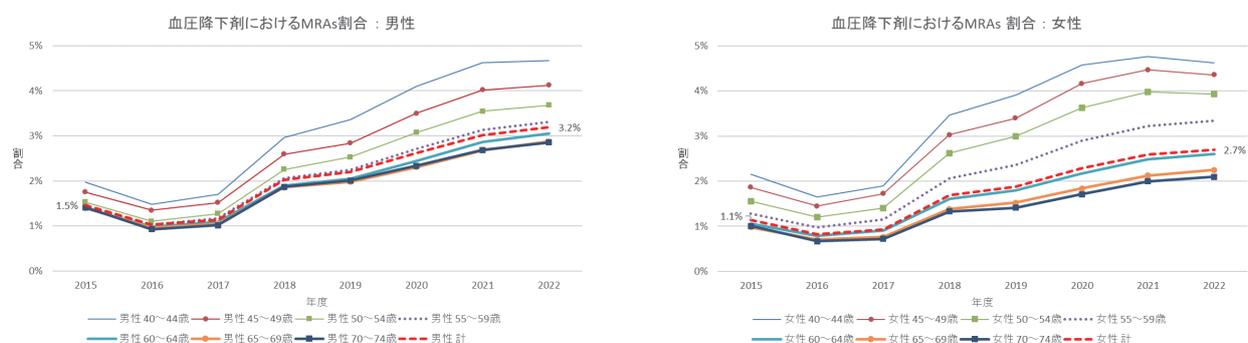
図11 NDB 処方薬データ（外来院外処方）：アンジオテンシンⅡ受容体拮抗薬／血圧降下剤



注) ARBsは各種合剤を含む

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」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図12 NDB 処方薬データ（外来院外処方）：ミネラルコルチコイド受容体拮抗薬／血圧降下剤



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」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

早期発見、早期治療を目的としてメタボリックシンドローム因子を重視する特定健診結果を集計したNDBオープンデータを用い、HbA1c高値例、尿蛋白高値例、BMI高値例の割合の経年的な変化を観察した結果から若干の考察をした。

[HbA1c高値について]

2014～2021年度の間で、HbA1cのNGSP値6.5%以上の割合のAPC、すなわち年平均変化率は男性計1.8%、女性計1.0%であったが、NGSP値8.0%以上の割合のAPCは男女1%前後であり、糖尿病が強く疑われる者は増加しているが、血糖コントロール不良例の増加は抑制しているという健康日本21データを反映しているものと推察された。血糖コントロール不良者の抑制は医師と専門医療者

による診断・治療・患者指導の尽力に加え、患者のリテラシー向上も要因として考えられる。医薬品の貢献としては、本稿で取り上げた2010年以降に大きく普及した新規機序の糖尿病用剤の影響もあると考えられる。ただし男女ともに高齢群においてHbA1cが6.5%以上の割合は顕著な増加を示していた（70～74歳APC:男性3.6%、女性2.6%）。これは糖尿病診療ガイドラインにおける高齢患者の状態カテゴリーに応じたHbA1c目標値⁴⁾の影響なのか、今後の変動に注目すべきであろう。

2020年度にNGSP値8.0%以上の割合が増加した理由について詳細を述べることはできないが、コロナ禍における糖尿病患者の受診控えに関する報告⁷⁾によると、2020年に通院が大きく減少した患

7) 日本医師会総合政策研究機構、日医総研リサーチエッセイ No.96 「コロナ禍での糖尿病患者の受診控えと症状悪化について」、2020.12 <https://www.jmari.med.or.jp/result/report/essay/post-516/>

者においてHbA1cの上昇が確認されたとしている。巻末表1に示したように特定健診受診者数も2020年度に減少していることが示された。2020年度の血糖コントロールの増悪とコロナ禍との関係分析については今後の研究に期待したい。

[尿蛋白高値について]

糖尿病診療GLでは、『日本人糖尿病患者における微量アルブミン尿の出現ならびに顕性アルブミン尿への進行、すなわち、尿中アルブミン排泄の増加が腎機能低下のリスクとなることは、多くのコホート研究・観察研究にて示されている』⁴⁾としており、CKD診療GLでは、『蛋白尿・アルブミン尿は末期腎不全、CVD死亡、全死亡など重篤なイベントの強力なリスク因子であり、重要なCKD診断項目の1つである。CKDの診断および重症度判定時に蛋白尿もしくはアルブミン尿の評価は必須である』⁵⁾とし評価基準を示している(図13)。

NDBODからは、2014~2021年度の間で、尿蛋白2+以上、尿蛋白+以上の受診者割合のAPCは、男女ともいずれの群も減少しており、透析導入患者の減少との関係が推察された。ただし70~74歳の男女受診者で2+以上、+以上ともにその割合が高く、推移に大きな変化を認めない点を考

図13 CKDの重症度分類 (CKD診療ガイド2012 改変)

原疾患	蛋白尿区分	A1	A2	A3
糖尿病性腎臓病	尿アルブミン定量 (mg/日)	正常	微量アルブミン尿	顕性アルブミン尿
	尿アルブミン/Cr比 (mg/gCr)	30未満	30~299	300以上
高血圧性腎硬化症 腎炎 多発性囊胞腎 移植腎 不明 その他	尿蛋白定量 (g/日)	正常	軽度蛋白尿	高度蛋白尿
	尿蛋白/Cr比 (g/gCr)	0.15未満	0.15~0.49	0.50以上
GFR区分 (mL分/1.73 m ²)	G1 正常または高値	≥90		
	G2 正常または軽度低下	60~89		
	G3a 軽度~中等度低下	45~59		
	G3b 中等度~高度低下	30~44		
	G4 高度低下	15~29		
G5 高度低下~末期腎不全	<15			

重症度は原疾患・GFR区分・蛋白尿区分を合わせたステージにより評価する。CKDの重症度は死亡、末期腎不全、CVD死亡発症のリスクを緑■のステージを基準に、黄■、オレンジ■、赤■の順にステージが上昇するほどリスクは上昇する。(KDIGO CKD guideline 2012を日本人用に改変)

注：わが国の保険診療では、アルブミン尿の定量測定は、糖尿病または糖尿病性早期腎症であって微量アルブミン尿を疑う患者に対し、3カ月に1回に限り認められている。糖尿病において、尿定性で1+以上の明らかな尿蛋白を認める場合は尿アルブミン測定は保険で認められていないため、治療効果を評価するために定量検査を行う場合は尿蛋白定量を併せて検査する。

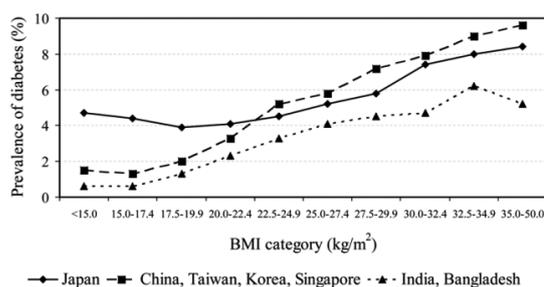
出典：一般社団法人 日本腎臓学会 エビデンスに基づくCKD診療ガイドライン2023

えると、透析導入者の高齢化²⁾との関係が示唆された(70~74歳、尿蛋白2+割合のAPC:男性0.2%、女性0.1%、+割合のAPC:男性▲0.0%、女性▲0.0%)。

[BMI高値について]

2011年に日本を含むアジア諸国18コホートで募集された90万人以上を対象としたBMIと糖尿病との関連性を横断的に分析した研究結果⁸⁾が公表され、研究対象集団のすべてのコホートおよびすべてのサブグループで、BMIと糖尿病有病率に正の相関を示したことが報告された(図14)。糖尿病診療GLでは、『BMI25以上の肥満、特に内臓脂肪型肥満は、糖尿病の発症と病態の進行・悪化を助長する重要な因子である。肥満を伴う糖尿病は肥満症であり、二次性肥満の検索とともに、第一に減量による代謝改善を図る』⁴⁾としている。

図14 性別年齢調整後のBMI別・地域別糖尿病有病率



出典：Boffetta P. et al, PLoS One. 22;6 (6):e19930. doi: 10.1371/journal.pone.0019930, 2011

NDBODでみた2014~2021年度のBMI高値割合のAPCは、男女とも25以上、30以上で正を示していた。特に30以上で大きなAPCが示され、今後、糖尿病発症・進行リスクの高まる高度肥満は、特に中年期において顕著な増加が懸念される(50~54歳、BMI ≥30割合のAPC:男性7.0%、女性6.3%)。

第二に、診療ガイドラインで病態に応じて推奨される糖尿病関連薬の処方変化について観察した結果から若干の考察をした。

8) Boffetta P. et al, PLoS One., 6 (6), e19930. Doi : 10.1371/journal.pone.0019930, 2011
<https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0019930>

[糖尿病性腎症への推奨糖尿病用剤]

2024年版の糖尿病診療 GL ではアルブミン尿のある糖尿病性腎症を有する患者、2023年度版のCKD 診療GLでは糖尿病性腎臓病を有する患者に対する糖尿病用薬として新たにSGLT2Isを推奨している^{4) 5)}。また糖尿病診療 GL では、2型糖尿病患者の腎症の進行抑制に対して新たにGLP1RAsを推奨している⁴⁾。なお両学会は糖尿病性腎症について、2018年に蛋白尿（アルブミン尿）の出現と増加の後に腎機能が低下する典型例である「糖尿病性腎症」と、アルブミン尿の増加がないにもかかわらず腎機能が低下する糖尿病状態に関連する腎疾患とを含めて「糖尿病性腎臓病もしくは糖尿病関連腎臓病（diabetic kidney disease : DKD）」という概念で定義しており、CKD診療GLではDKDでの表記で統一している。

2015～2022年度のNDBODの分析から、SGLT2Isの糖尿病剤に占める数量割合は2022年度には15～17%を占め、数量割合のAPCすなわち年平均変化率は男女とも約40%と大きな成長が示された。糖尿病ホルモン剤におけるGLP1RAsの占める数量割合は、年平均25～29%の範囲で増加がみられ、2022年度には男女とも27%を超えていた。SGLT2Is、GLP1RAsの腎保護効果エビデンスの詳細については各ガイドライン^{4) 5)}を参照して頂きたいが、一例としてSGLT2IsのDAPA-CKD試験では、複合プライマリーエンドポイント（eGFR50%以上の低下+末期腎不全+腎イベント死+心血管イベント死）において、対照群に比して相対リスク39%の低下を示し、末期腎不全（eGFR<15ml/min/1.73m²+透析導入+腎移植）でも36%のリスク低下を示したとあり⁹⁾、先述の通り、糖尿病診療における早期発見と栄養・生活指導に対する医療者および各専門職の方々の努力と進歩に加え、糖尿病用剤の進化も糖尿病性腎症を原疾患とする透析導入の減少に寄与している可能性が推察された。

[糖尿病性腎症への推奨血圧降下剤等]

両ガイドラインでは糖尿病性腎症に対し、血圧降下剤として長らくACEIsとARBsが推奨されてきたが、アルブミン尿を有する患者には新たにMRAsが推奨薬に加わった^{4) 5)}。特に糖尿病診療GLでは、2022年に発売された新規MRAsのfinerenoneを推奨しているが、NDBODにはまだ処方量が反映されていなかった。血圧降下剤におけるMRAsの数量割合は2022年度で男女とも約3%程度だが、その割合は2015～2022年度の間で年平均17～19%で増加しており、今後継続して処方量の増加が推察される。また、利尿剤における古典的MRAsのspironolactoneの数量割合は約20%で推移し大きな経年変化はないが、利尿剤全体の処方量は年平均4%前後で増加していた。本稿では分析できておらず、改めてその機会を検討したいが、高齢化によって近年心不全患者の急増が推定されており¹⁰⁾、またCKD診療GLで体液過剰CKD例に対してはループ利尿剤の処方を提案⁵⁾していることも増加に影響している可能性がある。

[肥満を伴う糖尿病への推奨糖尿病用剤]

糖尿病診療GLでは、肥満2型糖尿病への薬物治療として、SGLT2Is、GLP1RAsを推奨している⁴⁾。SGLT2Isは近位尿細管での糖の再吸収を阻害し、糖の尿排泄を促進することで体重を減少させると考えられており、GLP1RAsは膵臓GLP1受容体に作用しインスリン分泌を促進し糖代謝を活性化するとともに食欲抑制作用もあり、周知の通り、体重の著明な減少が認められたことから欧米では先行して肥満症治療剤としてリポジショニングされている。先述同様、各薬剤のエビデンスの詳細は糖尿病診療GL³⁾を参照して頂きたいが、SGLT2Isは尿糖排泄による体重減少作用に加えて利尿作用があるため体液量を減少、血圧を低下させる作用もあり、腎臓や脳の細動脈障害、MACE（major adverse cardiovascular events）の発症抑

9) H.J.L.Heerspink. et al., N Engl J Med., 383 (15), 1436-1446, 2020
https://www.nejm.org/doi/10.1056/NEJMoa2024816?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%20pubmed

10) Shimokawa H. et al., Eur J Heart Fail., 17 (9):884-892, 2015
<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/ehf.319>

制、心不全の増悪抑制が臨床試験の結果から認められ、慢性心不全、CKDの適応を取得した製品もある。GLP1RAsも同様にMACE、複合腎イベントの発症抑制が臨床試験とメタ解析で認められている。また、僅かであるが有意な体重減少のエビデンスのある糖尿病用剤としてmetforminを掲げている。

NDBOD 特定健診の推移からみて、将来もBMI高値者の割合の増加が懸念され、糖尿病発症の増加に繋がる可能性も考えられる。現在、抗肥満作用のある糖尿病用剤は増加しているが、それ以上に糖尿病予備軍が増加することも考えられ、今以上に抗肥満作用のある糖尿病用剤のニーズが大きくなる可能性が高い。しかし需要が増加するとはいえ、医薬品は適正使用の順守が必須であり決して安易に使用されてはならない。GLP1RAsでは2023年12月に日本糖尿病学会から「美容・痩身・ダイエット目的での適応外使用」に対する注意喚起が発出¹¹⁾され、その後販売企業からも発出¹²⁾された。2024年5月には日本糖尿病学会はDPP4Isを含めたインクレチン関連薬の勧告を全面改訂し、「サルコペニア・フレイルのリスクの高い高齢者」への使用等に対する注意喚起を発出¹³⁾、SGLT2Isでは2024年12月に「ケトアシドーシスの遷延」に関する使用上の注意の改訂指示がPMDAより発出¹⁴⁾された。

近年、肥満と肥満が間接的に影響する睡眠障害、睡眠時無呼吸は糖尿病、高血圧の罹患と関連しているとした国内最大規模のコホート研究が公表¹⁵⁾

され、糖尿病や高血圧の増悪抑止には減量や睡眠障害治療の重要性が示唆されている。抗肥満作用、腎保護作用が改善された糖尿病用剤は、腎イベント、MACEの減少が期待できる反面、安全かつ効果的、効率的な治療にすべく適切な患者に適正に使用されるように、医療者のみならず製薬産業としてもその処方動向を注視していくことが極めて重要と考える。

5. おわりに

最近、国内の健康保険コホートデータを用いた糖尿病用剤の比較研究が2編公表された^{16) 17)}。臨床試験の結果とは異なる箇所もあるが、両編とも実臨床における医療の効率化に着目した研究であり、今後このような切り口での医療技術のリアルワールドデータ分析の数は増えてくるであろう。2型糖尿病の発症は複数の遺伝的要因に加えて、過食・運動不足といった生活習慣と環境因子の影響が大きい⁴⁾とされるため、高度肥満等、特定健診結果と指導・治療レセプトをリンクさせることで特定健診の効果の評価に繋げることができる。更に薬剤等の医療技術の効果評価、特に慢性疾患のアウトカムに対する医療技術評価には中長期的なデータが必要となるため、発症予防と治療効果の評価や改善策の検討においてNDBデータは臨床試験を補完する余地が大きく、今後更に重要度が増すと思われる。そしてNDBデータの利活用の促進は、医療技術の使用実態の透明化と適正使用の推進においても大いに役立つであろう。

11) 一般社団法人 日本糖尿病学会、「GLP-1受容体作動薬およびGIP/GLP-1受容体作動薬の適応外使用に関する日本糖尿病学会の見解」、2023.12 <https://www.pmda.go.jp/files/000265856.pdf>

12) PMDA ホームページ 製薬企業からの適正使用等に関するお知らせ、「GLP-1受容体作動薬及びGIP/GLP-1受容体作動薬の適正使用に関するお知らせ」、2024.10 <https://www.pmda.go.jp/files/000271477.pdf>

13) 一般社団法人 日本糖尿病学会 薬剤の安全使用に関する委員会、「インクレチン関連薬の安全な使用に関するRecommendation 第2版」、2024.5 <https://www.jds.or.jp/uploads/files/recommendation/incratin.pdf>

14) PMDA ホームページ 使用上の注意の改訂指示通知（医薬品）2024年度指示分、「SGLT2阻害薬含有製剤の「使用上の注意」の改訂について」、2024.12 <https://www.pmda.go.jp/files/000272678.pdf>

15) Matsumoto T., Sleep., 41 (7), PMID: 29746662., 2018 <https://academic.oup.com/sleep/advance-article-abstract/doi/10.1093/sleep/zsy071/4985386?redirectedFrom=fulltext&login=false>

16) Mori Y. et al., Cardiovasc Diabetol., 23 (1), 372. doi: 10.1186/s12933-024-02478-7., 2024 <https://cardiab.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12933-024-02478-7>

17) Nakatani E. et al., PLoS One., 19 (8), e0308734. doi: 10.1371/journal.pone.0308734. eCollection, 2024 <https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0308734>

2024年12月に内閣府は、規制改革推進会議による「規制改革推進に関する中間答申」¹⁸⁾を公表した。この答申では「医療等データの利活用法制等の整備」として、NDBをはじめとする国が保有する11の医療等の「公的データベース」の情報に加えて、次世代医療基盤法の認定事業者が保有する「認定データベース」の情報を2025年内に仮名化連結し解析可能な環境に整備することを決定した。蓄積された医療データは国民の健康に寄与する貴重な財産である。医療ビッグデータが患者・国民全体のメリットとして還元されるためにも、医療

技術評価に精确性をもたらし、次世代の医療技術開発に繋げるデータ分析環境は速やかに構築されることが望まれる。そのためにも悉皆性のあるNDBがプラットフォームとなり、健康／介護保険データ、電子カルテデータ、国立の医療機関と医／薬学会が集積する各種の健康／医療／医療技術データ、政府統計等とが連結され、質の高いリアルワールドデータが医療者、研究者、ヘルスケア関連産業に幅広く利用されることを大いに期待する。

18) 内閣府ホームページ 規制改革推進会議「規制改革推進に関する中間答申」、2024.12
<https://www8.cao.go.jp/kisei-kaikaku/kisei/publication/opinion/241225.pdf>

表1 NDBOD 特定健診データ（40～74歳）

(A) HbA1c (NGSP 値)			(B) 尿蛋白			(C) BMI		
	データ取得受診者数			データ取得受診者数			データ取得受診者数	
年度	男性	女性	年度	男性	女性	年度	男性	女性
2014	10,832,146	9,612,530	2014	—	—	2014	14,371,116	11,939,552
2015	11,215,181	10,014,910	2015	14,755,366	12,284,644	2015	14,802,807	12,383,655
2016	11,478,428	10,144,246	2016	15,058,612	12,459,455	2016	15,107,705	12,561,940
2017	11,883,850	10,531,829	2017	15,502,619	12,940,935	2017	15,552,184	13,049,849
2018	11,911,821	10,671,939	2018	15,505,478	13,055,086	2018	15,549,799	13,159,620
2019	12,135,154	10,772,116	2019	15,815,011	13,307,359	2019	15,867,431	13,420,400
2020	11,660,791	10,172,999	2020	15,275,122	12,669,976	2020	15,322,770	12,771,465
2021	12,178,165	10,868,349	2021	15,772,115	13,443,764	2021	15,821,169	13,548,094
APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性
データ取得受診者数	1.4%	1.4%	データ取得受診者数	0.9%	1.2%	データ取得受診者数	1.2%	1.5%
APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性
HbA1c ≥8.0%割合	1.2%	0.9%	尿蛋白 ≥2+ 割合	▲1.5%	▲1.9%	BMI ≥30割合	5.8%	5.3%
HbA1c ≥6.5%割合	1.8%	1.0%	尿蛋白 ≥+ 割合	▲2.2%	▲2.6%	BMI ≥25割合	2.2%	2.4%

注) 2018年度以降は新たに「都道府県判別不可例」が集計されているが、以前のデータと整合性を取るため除外し集計した。

注) APC : annual percent change (年平均変化率)

出典 : 厚生労働省 NDB オープンデータ 第2回 (2014年度) ~ 第9回 (2021年度) 「特定健診 検査」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表2 NDBOD 処方薬データ（40～74歳）

(A) 糖尿病用剤			(B) 糖尿病用ホルモン剤			(C) 血圧降下剤			(D) 利尿剤		
	処方単位数 (外来院外処方)			処方単位数 (外来院内外処方)			処方単位数 (外来院外処方)			処方単位数 (外来院外処方)	
年度	男性	女性	年度	男性	女性	年度	男性	女性	年度	男性	女性
2015	2,065,776,071	1,194,199,143	2015	14,724,821	9,687,931	2015	1,555,789,854	1,039,540,722	2015	195,872,939	155,128,856
2016	2,062,961,830	1,178,226,741	2016	14,993,145	9,834,512	2016	1,454,968,667	938,706,410	2016	202,581,798	178,794,568
2017	2,086,534,354	1,175,632,134	2017	15,644,718	10,188,925	2017	1,370,093,418	878,402,733	2017	230,057,621	194,734,990
2018	2,106,182,997	1,173,123,994	2018	16,243,325	10,472,655	2018	1,334,846,070	847,950,785	2018	243,243,547	200,697,749
2019	2,165,068,679	1,190,797,526	2019	16,948,991	10,857,635	2019	1,353,035,094	844,998,327	2019	248,615,785	201,259,220
2020	2,252,726,216	1,220,638,839	2020	17,610,894	11,161,025	2020	1,407,610,247	862,706,539	2020	258,848,211	207,985,054
2021	2,392,508,638	1,281,794,655	2021	18,404,406	11,593,260	2021	1,488,336,675	913,292,936	2021	267,249,007	214,276,441
2022	2,451,652,120	1,290,239,395	2022	17,633,093	10,929,947	2022	1,509,623,068	908,650,370	2022	263,464,823	210,515,478
APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性
糖尿病用剤処方単位数	2.7%	1.3%	糖尿病用ホルモン剤処方単位数	3.3%	2.4%	血圧降下剤処方単位数	▲0.0%	▲1.3%	利尿剤処方単位数	4.7%	3.9%
APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性	APC	男性	女性
SGLT2Is 割合	42.9%	39.4%	GLP1RAs 割合	28.7%	25.4%	ARBs 割合	0.2%	0.4%	spironolactone 割合	0.5%	▲0.9%
DPP4Is 割合	▲2.1%	▲1.3%				ACEIs+ レニン阻害薬割合	▲0.1%	▲2.5%			
metformin 割合	1.0%	1.0%				MRAs割合	17.4%	19.0%			

注) APC : annual percent change (年平均変化率)

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

日本先行承認された新医薬品の特徴 —薬価算定状況等の観点からの調査・分析—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美
医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓

要約

- 本稿では、2018年度以降に収載された新医薬品の中で、日本先行承認された新有効成分含有医薬品（本稿では「日本先行承認品目」を中医協資料において「初承認国」に日本と記載された品目と定義）の特徴を、薬価算定状況や対象疾患等の観点、そして2024年12月時点での海外での承認・開発状況について調査した。
- 新有効成分含有医薬品の算定方式（原価計算方式、類似薬効比較方式(I)、類似薬効比較方式(II)、その他）の割合は、日本先行承認と海外先行承認で大きな違いは認められなかった（それぞれ日本先行:29%、62%、8%、1.4%、海外先行:30%、64%、6%、0.5%）。
- 原価計算方式又は類似薬効比較方式(I)で算定された品目についてさらに調査したところ、希少疾病用医薬品の割合は、原価計算方式では海外先行承認に比べて日本先行承認で少ない傾向が見られた。また、有用性系加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）の割合はいずれの算定方式でも海外先行承認に比べて日本先行承認で少なかった。不服申立の実施割合は、原価計算方式で算定された日本先行承認品目は、その他の分類に比べて多い傾向が見られた。
- 海外状況としては、2024年12月時点で同一成分が海外のいずれかで承認済みのものは、原価計

算方式、類似薬効比較方式(I)それぞれで57%、65%あり、未承認だが開発情報があるものも含めると76%、89%に上った。また、新薬創出等加算への該当割合は、海外未承認と承認済みで同程度だった。

- 本稿での分析結果を踏まえれば、原価計算方式又は類似薬効比較方式(I)で算定された新有効成分含有医薬品に関しては、「日本でのみ承認されている」状況が医薬品の有用性判断に直結するものではないと考えられる。革新的新薬の日本への迅速導入に加え、海外より日本で患者数が多い疾患等の治療薬開発促進のためにも、海外での承認状況に関わらず日本で新薬が開発・承認されやすい環境整備が今後も進むことが期待される。

1. はじめに

近年、多くの医薬品開発はグローバル化し、単一国ではなく複数国で行われるようになってきた¹⁾。そうした中、国内患者の新薬アクセスの迅速化に向けて、日本における早期開発を促進するための様々な制度が整備されてきた。例えば、先駆的医薬品（先駆け審査指定制度）や国際共同治験に参加する場合の日本人第I相試験の必要性の整理、希少疾病用医薬品の指定件数の増加等の薬事制度²⁾や、先駆加算、迅速導入加算等の薬価制

1) 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－2023年までの動向とアジア地域について－」、政策研ニュース No.73（2024年11月）

2) 厚生労働省、令和5年度第1回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会「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について」（資料1－2）<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001206963.pdf>（参照：2025/01/28）

度³⁾が挙げられる。一方で、日本での革新的新薬の早期開発については引き続き議論が重ねられている。

本稿では、これまでに日本先行承認された新有効成分含有医薬品について複数の観点で調査し、特徴を分析した。これにより、今後の日本における新医薬品の早期開発を促す環境整備に向けた検討の一助となることを期待したい。

なお、本稿での「日本先行承認」は新有効成分含有医薬品としての新規記載時の中央社会保険医療協議会（以降、中医協）資料⁴⁾に初承認国として日本が記載されている（複数国が記載されている場合も含む）新医薬品と定義した。

2. 調査方法

2018年4月から2024年11月までに新医薬品として記載された新有効成分含有医薬品について、記載時薬価に関する情報（算定方式、有用性系加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、新薬創出等加算）、不服申立）や希少疾病用医薬品の指定有無を、中医協資料の「新医薬品一覧表」⁴⁾、薬価改定時の資料⁵⁾や各医薬品のインタビューフォームなどから取得した。同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した。製造販売業者の内資系・外資系については、各社ホームページ等をもとに本社所在地や出資者等から判断した。国内資本と海外資本が50%ずつの1社は不明として今回の解析から除外した。

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

特に大きな変更があり、中でも、補正加算と新薬創出等加算の制度に大きな変化があったことから⁶⁾、補正加算等の各種加算制度を含めた特徴分析のためには、2018年度抜本改革以降の記載に限定する必要があると判断した。なお、記載時の新薬創出等加算の該当性については、中医協資料に2018年8月記載以降に記載されるようになったため⁷⁾、中医協資料のみの調査ではすべてを集計しきれない。そこで本稿では、それ以前の記載（2018年4月、5月）については2019年度薬価改定時の新薬創出等加算品目のリスト⁸⁾から該当性を判断した。

海外の承認・開発状況については「明日の新薬（テクノミック制作）」、各医薬品のインタビューフォーム等をもとに調査した（2024年12月現在）。同一効能での承認状況についてのみ、欧米か欧米以外かで分けて調査し、その他は欧米・欧米以外の区別は行わなかった。また、承認情報については効能、製剤、規格の違いを区別し、いずれかが異なるものは「承認済（別効能等）」として調査したが、開発情報は効能、製剤等での区別はしなかった。

なお、「日本先行承認」は様々な定義が考えられるが、本稿では薬価の観点での分析を多く実施するため、中医協資料にもとづいた判断を行った。つまり、海外で別効能が承認済みの医薬品であっても、中医協資料に「初承認国：日本」と記載されているものは「日本先行承認」として扱っており、本稿での「日本先行承認」の分析はあくまで中医協資料の定義により調査・分析するものであ

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：2025/01/28）

4) 中央社会保険医療協議会（中医協）、資料、厚生労働省、https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128154.html（参照：2025/01/28）

5) 厚生労働省、令和元年度診療報酬改定について、https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000188411_00026.html（参照：2025/01/28）

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

7) 中央社会保険医療協議会 総会（第398回）、議事録より抜粋「前回の新薬の薬価記載の議論の際に、新薬創出等加算の対象となる医薬品がわかるようにできないかといった指摘があったことを踏まえまして、本日用意した総－2－1におきましては、（中略）新薬創出・適応外薬解消等促進加算に該当するか否か（中略）わかるように記載させていただいている」、https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000205879_00037.html（参照：2025/01/28）

8) 厚生労働省、令和元年度診療報酬改定について、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算 対象品目リスト」 <https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000538498.pdf>（参照：2025/01/28）

る。また、海外承認状況についても、今回の調査時点（2024年12月）での一律の状況であることから、各医薬品の収載時点から一定期間経過後の状況ではない。したがって、個別品目の承認状況については一概に比較できない点も多い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. 薬価算定状況等

新有効成分含有医薬品が主に該当し、補正加算の対象となる算定方式として、類似薬効比較方式(I)と原価計算方式を主に調査した。加えて希少疾病用医薬品や製造販売業者の資本（内資系企業・外資系企業）、有用性系加算、新薬創出等加算への該当性を調査することで、日本先行承認品目の特徴を分析した。また、不服申立の実施有無を調査することで、薬価交渉の状況について考察した。

2-2. 対象患者・疾患

中医協資料をもとに、各医薬品のピーク時対象患者数や、対象疾患（薬効分類別）について調査することで、日本先行承認品目の特徴を分析した。

2-3. 海外状況

日本先行承認品目の2024年12月時点での海外での承認情報と開発情報の有無を調査した。また海外での承認情報・開発情報の有無により収載時の新薬創出等加算への該当性に違いがあるかどうかを調査した。

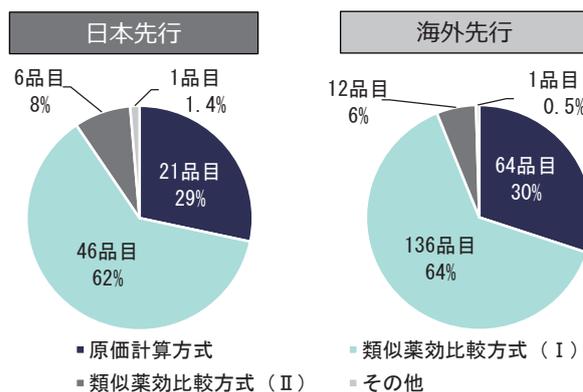
3. 結果

3-1. 薬価算定状況等

① 算定方式

2018～2024年度（2024年度は4月、5月、8月、11月の4回分）に収載された新有効成分含有医薬品の薬価算定方式について調査したところ、日本先行承認と海外先行承認では薬価算定方式の割合に大きな違いは見られなかった(図1)。日本先行および海外先行における割合はそれぞれ、原価計算方式が29%および30%、類似薬効比較方式(I)が62%および64%、類似薬効比較方式(II)が8%および

図1 日本先行又は海外先行承認品目における算定方式の割合



注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

出所：2018年4月～2024年11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が作成

び6%、その他（特例等）が1.4%および0.5%であった。以降の調査は、これらの算定方式のうち、より革新的な医薬品が該当する可能性が高いと考えられる原価計算方式と類似薬効比較方式(I)で算定された品目に着目し、日本先行承認品目の特徴を調査した。

② 希少疾病用医薬品の指定有無、製造販売業者の資本

2018～2024年度（2024年度は4月、5月、8月、11月の4回分）に収載された新有効成分含有医薬品について、日本先行承認と海外先行承認における希少疾病用医薬品の割合を算定方式別（原価計算方式と類似薬効比較方式(I)）に調査した結果、原価計算方式では類似薬効比較方式(I)に比べて希少疾病用医薬品の割合が多いが、その内訳をみると、海外先行承認では希少疾病用医薬品の割合が半数以上（61%）だが、日本先行承認では半数以下（33%）と大きな乖離があった。（図2-1）。

製造販売業者について、本社所在地や出資者等をもとに内資系企業、外資系企業に分類し、日本先行承認と海外先行承認における割合を調査したところ、いずれの算定方式においても海外先行承

図2-1 日本先行/海外先行承認品目における希少疾病用医薬品の割合（算定方式別）

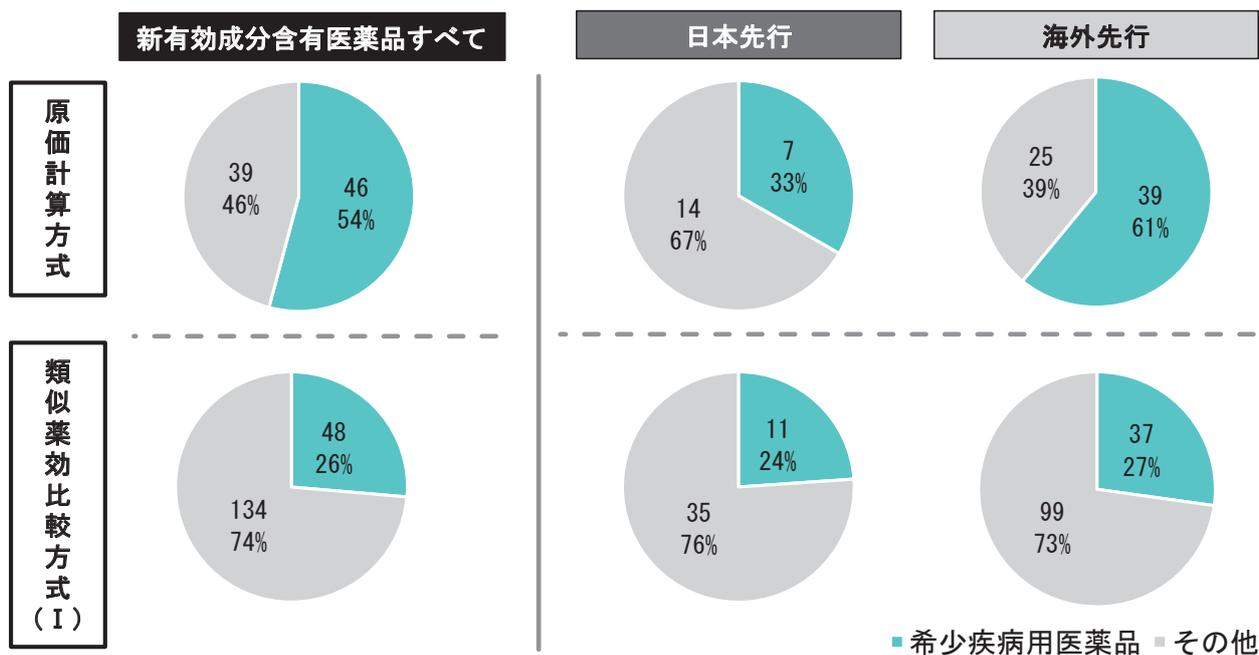
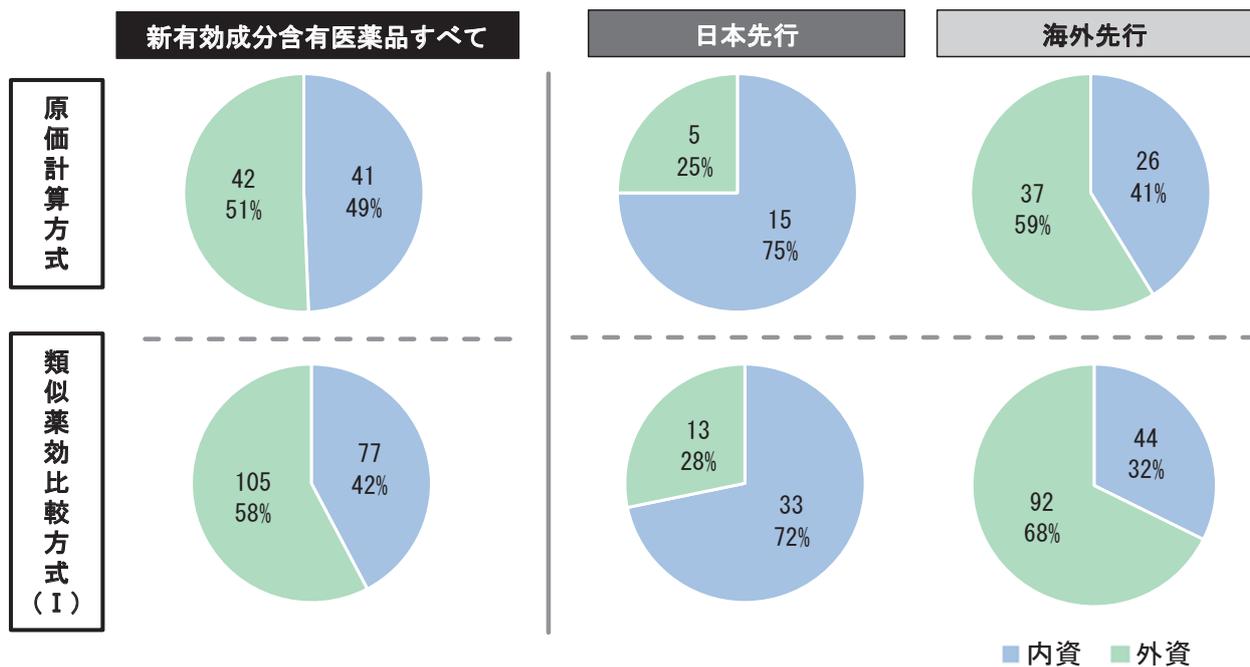


図2-2 日本先行/海外先行承認品目における製造販売業者の内資・外資割合（算定方式別）



認品目に比べて日本先行承認品目で内資系企業の割合が高かった（図2-2）。

③ 有用性系加算・新薬創出等加算・先駆加算
有用性系加算、新薬創出等加算への該当割合は、いずれも、類似薬効比較方式(I)より原価計算方式で多く、日本先行承認より海外先行承認で多い傾

向があった（図2-3、2-4）。先駆加算は当然のことながらほぼ日本先行承認品目であり、中でも原価計算方式で多い傾向が見られたが、1品目だけ海外先行承認が該当していた（図2-5）。

④ 不服申立
日本先行承認で原価計算方式による算定品目

は、その他の品目に比べて不服申立の割合が多かった(図2-6)。さらに、不服申立の内容を中医協資料で確認したところ、算定方式・加算・新薬創出等加算に関する主張を含んでいた品目は、日本先行承認の原価計算方式では4品目中3品目(75%)、類似薬効比較方式(I)では3品目中2品目(67%)だったのに対し、海外先行の原価計算方式

では4品目中2品目(50%)、類似薬効比較方式(I)では9品目中5品目(56%)であった(表1、補足1)。なお、算定方式・加算・新薬創出等加算に関する主張を含まなかった品目は、原価の追加資料提出、規格間比、1日薬価の計算方法や汎用規格等に関する主張が行われていた。

図2-3 日本先行/海外先行承認品目における有用性系加算の割合(算定方式別)

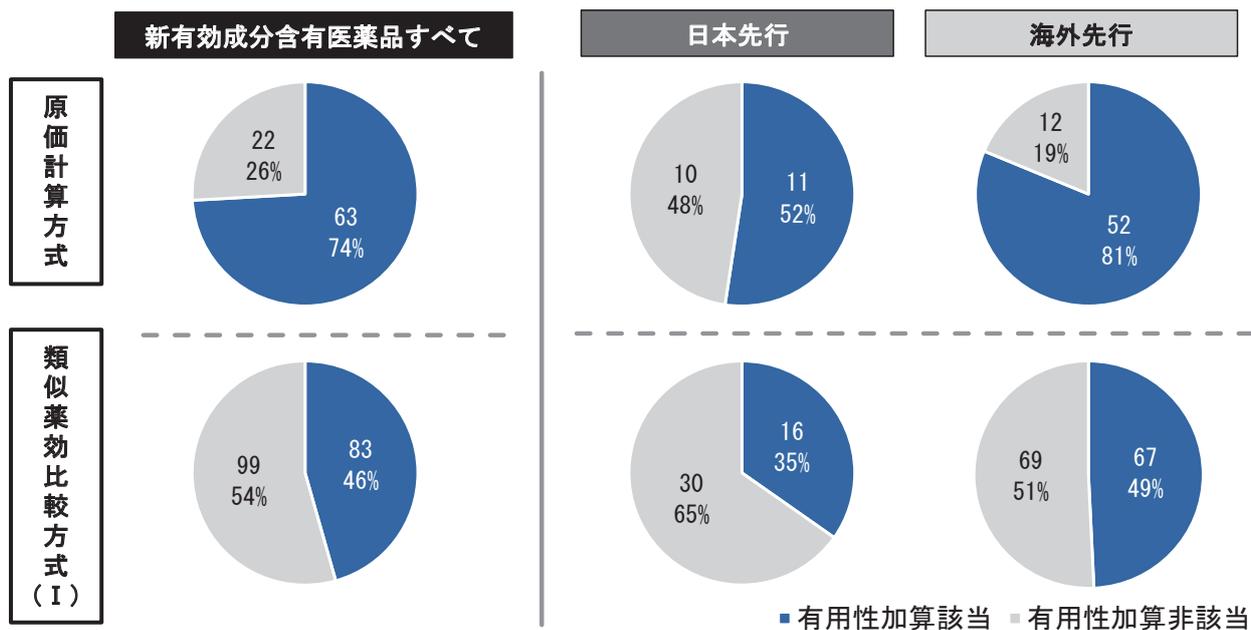


図2-4 日本先行/海外先行承認品目における新薬創出等加算の割合(算定方式別)

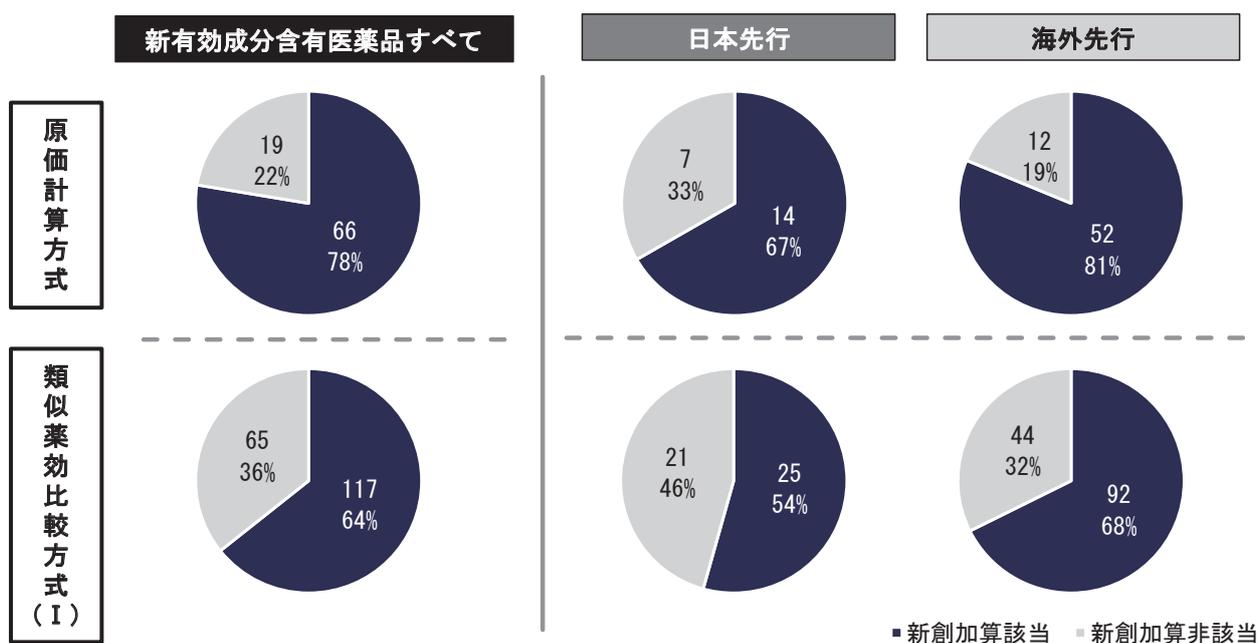
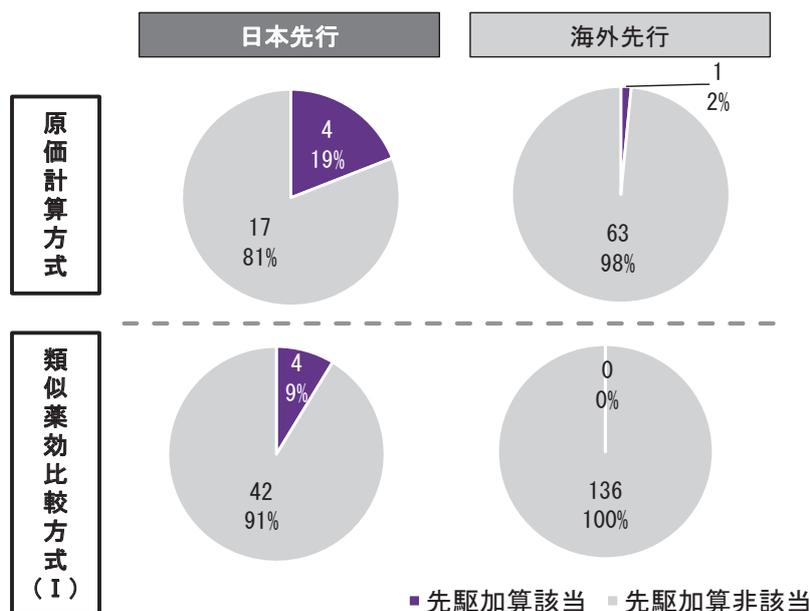


図2-5 日本先行/海外先行承認品目における先駆加算の割合（算定方式別）



注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

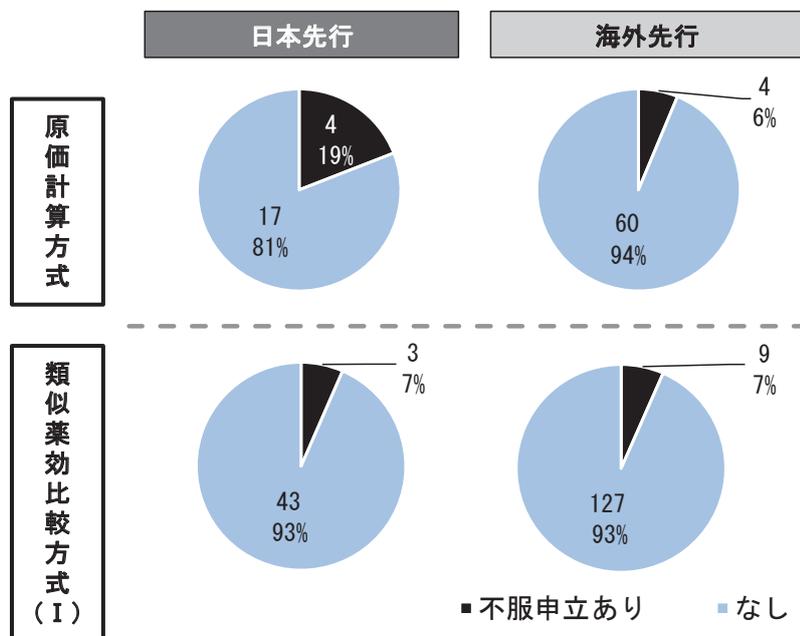
注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

注3：製造販売業者の内資、外資の判断は本社所在地や出資者等をもとに医薬産業政策研究所が行った。判断が困難だった1社を解析から除外した。

注4：2018年4月収載、5月収載品目については、「新医薬品一覧表」に新薬創出等加算への該当性の記載がないため、2019年度の薬価改定時の該当性で判断した。

出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、各医薬品のインタビューフォーム、各社のホームページをもとに医薬産業政策研究所が作成

図2-6 日本先行/海外先行承認品目における不服申立の割合（算定方式別）



注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、各医薬品のインタビューフォームをもとに医薬産業政策研究所が作成

表1 日本先行／海外先行承認品目における不服申立の主な主張内容（算定方式別、主張内容の概要順）

原価計算方式						類似薬効比較方式(I)					
日本先行			海外先行			日本先行			海外先行		
品目	主張概要	収載年度	品目	主張概要	収載年度	品目	主張概要	収載年度	品目	主張概要	収載年度
A	加算／原価	2020	E	算定方式／新創加算	2022	I	加算	2018	L	算定方式／加算	2023
B	加算／原価	2024	F	加算	2023	J	加算	2020	M	加算／新創加算／1日薬価	2024
C	新創加算	2022	G	原価	2021	K	規格間比	2023	N	加算／外国平均価格調整	2020
D	原価	2022	H	原価	2021				O	加算	2022
									P	加算	2024
									Q	1日薬価、剤形間比	2019
									R	1日薬価	2022
									S	1日薬価	2024
									T	汎用規格	2024

注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

出所：2018年4月～2024年11月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、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が主張内容の概要順にまとめた

3-2. 対象患者・疾患

① 対象患者数

日本先行承認品目の対象疾患の特徴を調べるため、中医協資料に記載された市場規模予測の予測投与患者数を比較した。予測投与患者数とは、新医薬品の収載時に製造販売業者が予測する国内におけるピーク時投与患者数である。希少疾病用医薬品と算定方式の観点で調査した結果、希少疾病用医薬品では算定方式に関わらず日本先行の方が海外先行より患者数（中央値）が少ない傾向があったが、希少疾病用医薬品以外では算定方式に関わらず日本先行の方が海外先行より多い傾向が見られた（図3-1）。次に、患者数に関する製造販売業者の資本の影響を考察する目的で、希少疾病用医薬品と製造販売業者の資本の観点で調査した結果、希少疾病用医薬品では内資系企業は日本先行と海外先行の患者数は中央値でいずれも100人台と大きな差は見られなかったが、外資系企業では海外先行より日本先行で患者数が少ない傾向が見られた（図3-2）。希少疾病用医薬品以外では

内資系・外資系に関わらず日本先行の方が海外先行より患者数が多い傾向が見られた（図3-2）。

② 対象疾患の薬効分類

日本先行承認品目の患者数について希少疾病用医薬品とそれ以外で異なる傾向が見られたことから、次に、対象疾患の薬効分類⁹⁾について調査した。まず、新有効成分全体（すべての薬効分類）では、日本先行承認の割合は希少疾病用医薬品では19%（日本先行：18品目、海外先行：76品目）、希少疾病用医薬品以外が28%（日本先行：49品目、海外先行：124品目）であった。薬効分類別に分析した結果、大分類では、希少疾病用医薬品では薬効分類4（薬効分類番号400番台：組織細胞機能用医薬品、33%）で日本先行承認の割合が最も多く、次いで薬効分類1（薬効分類番号100番台：神経系及び感覚器官用医薬品、22%）や薬効分類3（薬効分類番号300番台：代謝性医薬品、20%）が多かった。希少疾病用医薬品以外では薬効分類3（薬効分類番号300番台：代謝性医薬品、55%）で日本

9) 「日本標準商品分類の87を省略した薬効分類番号一覧表」の左から3桁までが中医協資料に記載されている。そのうち1桁目（大分類）は以下である。1：神経系及び感覚器官用医薬品、2：個々の器官系用医薬品、3：代謝性医薬品、4：組織細胞機能用医薬品、5：生薬及び漢方処方に基づく医薬品、6：病原性物に対する医薬品、7：治療を主目的としない医薬品、8：麻薬

図3-1 日本先行/海外先行承認品目の予測国内投与患者数（希少疾病用医薬品、算定方式別）

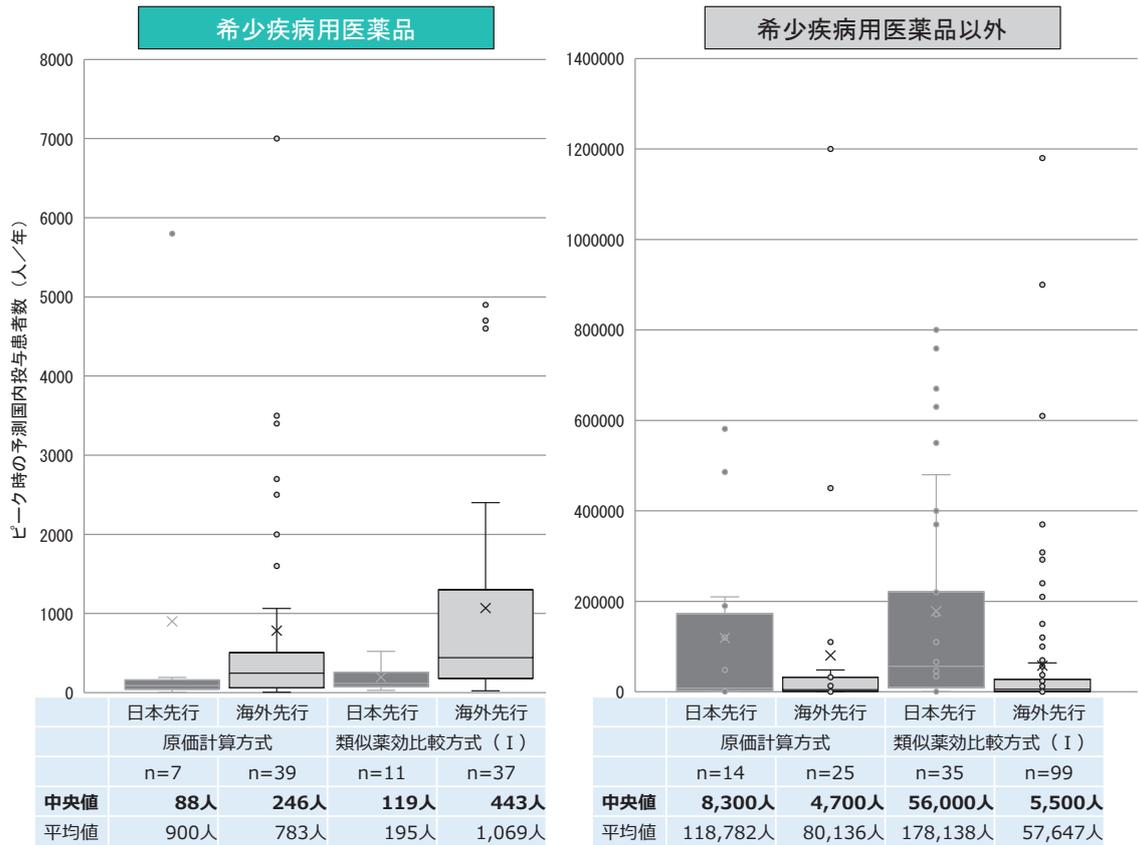


図3-2 日本先行/海外先行承認品目の予測国内投与患者数（希少疾病用医薬品、製造販売業者の資本別）

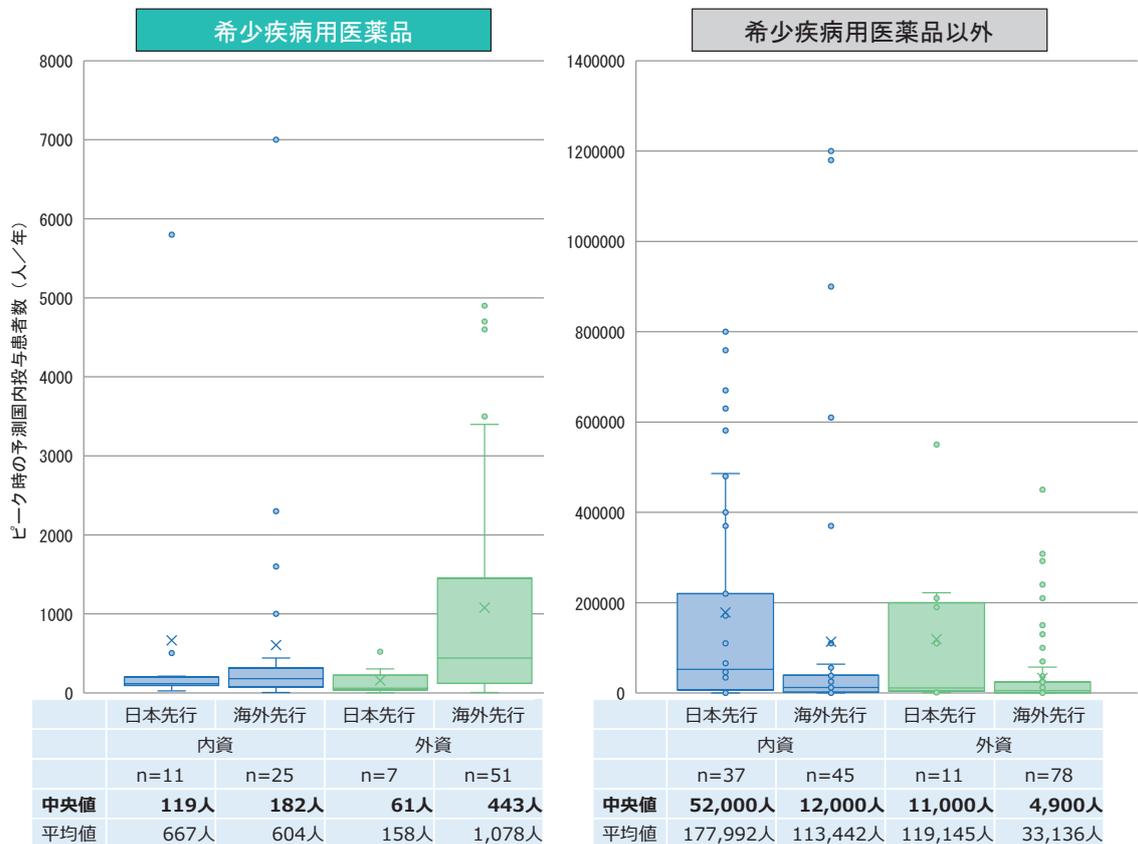
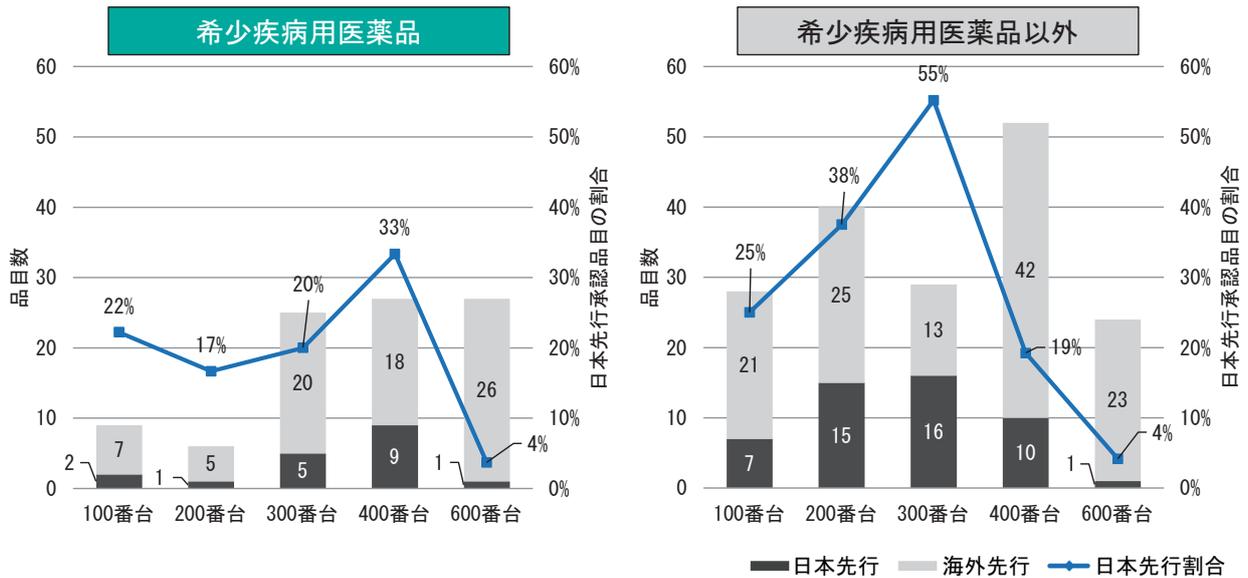


図3-3 各薬効分類番号における日本先行承認品目の割合



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。薬効分類5、7、8（薬効分類番号500、700、800番台）は調査対象期間に原価計算方式または類似薬効比較方式(I)で算定された新有効成分含有医薬品がないため図では省略した。
 出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、各社ホームページをもとに医薬産業政策研究所が作成

表2 日本先行承認品目の割合が高い薬効分類（希少疾病用医薬品への該当別）

希少疾病用医薬品					希少疾病用医薬品以外				
順位	薬効分類 (中分類)	日本先行の割合	品目数	承認品目数	順位	薬効分類 (中分類)	日本先行の割合	品目数	承認品目数
1	42 腫瘍用薬	38%	9	24	1	39 その他の代謝性医薬品	58%	14	24
2	39 その他の代謝性医薬品	24%	5	21	2	21 循環器用薬	31%	4	13
3	63 生物学的製剤	8%	1	12	3	11 中枢神経系用薬	18%	4	22
4	62 化学療法剤	0%	0	12	4	42 腫瘍用薬	16%	7	43
					5	24 ホルモン剤 (抗ホルモン剤を含む)	10%	1	10

注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。承認品目が10以上ある薬効分類番号について表を作成した。
 出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、各社ホームページをもとに医薬産業政策研究所が作成

先行承認が最も多く、次いで薬効分類2（薬効分類番号200番台：個々の器官系用医薬品、38%）で多かった（図3-3）。

より細かい分類（中分類）について、合計10以上の承認品目がある分類に限定して日本先行の割合を調査した結果、希少疾病用医薬品では42（薬効分類番号420番台：腫瘍用薬、38%）で日本先行の割合が最も高かった（表2、補足2）。一方、希少疾病用医薬品以外では39（薬効分類番号390番台：その他の代謝性医薬品、58%）が最も多く、次いで21（薬効分類番号210番台：循環器用薬、

31%）で日本先行が多かった。以上のように、腫瘍用薬は希少疾病用医薬品で日本先行の割合が多い傾向がある（希少疾病：38%、その他：16%）が、その他の代謝性医薬品（希少疾病：24%、その他：58%）は逆に希少疾病用医薬品で日本先行の割合が少ない傾向が見られた。

3-3. 海外状況

① 海外での承認・開発状況

海外状況としては、2024年12月時点で同一成分が海外のいずれかの国で承認されているものは、

原価計算方式では57%（12品目／21品目）、類似薬効比較方式(I)では65%（30品目／46品目）あり、未承認だが開発情報があるものも含めると原価計算方式では76%（16品目／21品目）、類似薬効比較

方式(I)では89%（41品目／46品目）に上った（図4-1）。また、いずれの算定方式においても、日本先行の希少疾病用医薬品の方が日本先行の希少疾病用医薬品以外に比べて調査時点での海外承

図4-1 日本先行承認品目の海外承認・開発状況（2024年12月時点）

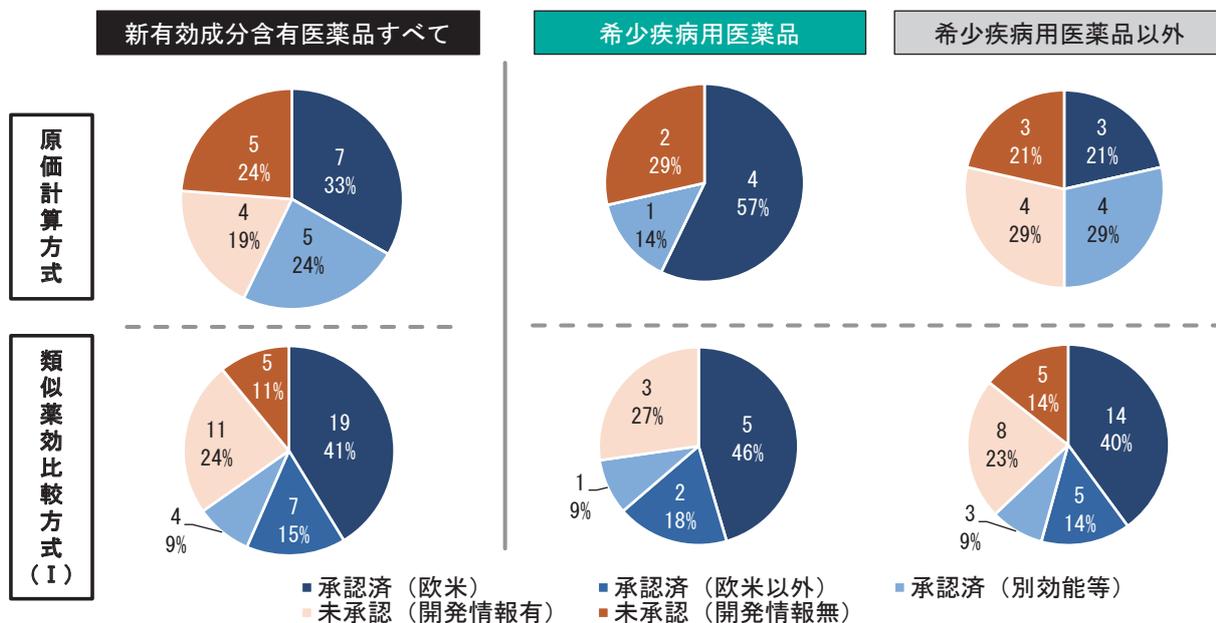
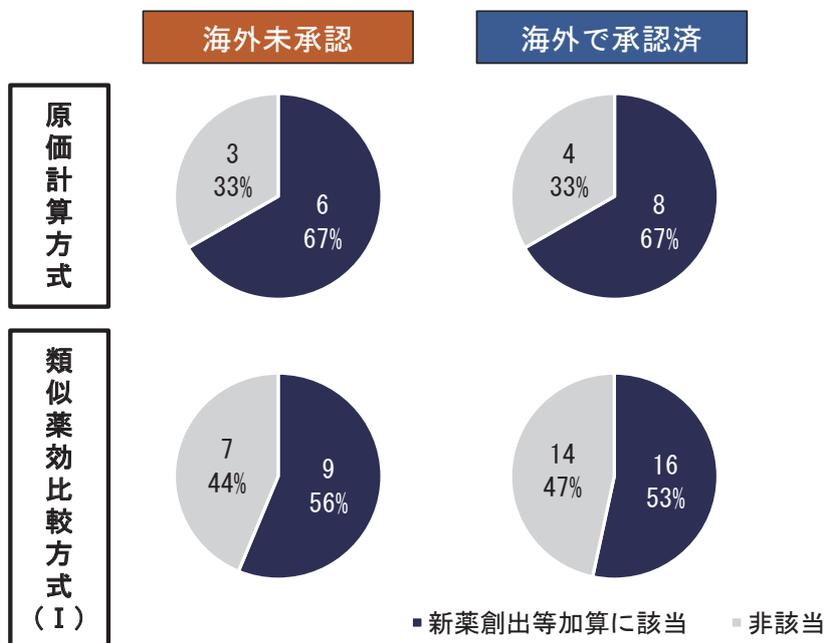


図4-2 日本先行承認品目の新薬創出等加算該当状況（2024年12月時点の海外承認状況別）



注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

注3：2018年4月掲載、5月掲載の新薬創出等加算については掲載時の資料に記載がないため、2019年10月の薬価改定時の該当性で判断した。

出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、インタビューフォーム、「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

表3 日本先行承認品目（海外での開発情報無し：2024年12月時点）の新薬創出等加算該当状況

日本先行承認（海外未承認、開発情報無し）					
原価計算方式			類似薬効比較方式(I)		
品目	収載年月	新薬創出等加算	品目	収載年月	新薬創出等加算
a	2019.5	該当	f	2018.4	該当
b	2020.5	該当	g	2019.2	該当
c	2021.11	該当	h	2021.8	—
d	2022.5	—	i	2022.5	—
e	2024.11	該当	j	2024.8	該当

注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

注3：2018年4月収載、5月収載の新薬創出等加算については収載時の資料に記載がないため、2019年10月の薬価改定時の該当性で判断した。

出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、インタビューフォーム、明日の新薬（テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所が作成

認済みの割合が高い傾向が見られた。

次に、海外での承認状況別に収載時点での新薬創出等加算への該当性を調査したところ、日本先行承認品目のうち、2024年12月時点で海外承認済みのものは原価計算方式では67%、類似薬効比較方式(I)では53%が新薬創出等加算に該当していたのに対し、海外未承認のものは原価計算方式では67%、類似薬効比較方式(I)では56%であり、調査時点での海外承認状況による新薬創出等加算の該当有無の違いは見られなかった(図4-2)。さらに、海外未承認で開発情報も無い品目に着目したところ、原価計算方式では5品目中4品目(80%)で、類似薬効比較方式(I)では5品目中3品目(60%)で新薬創出等加算に該当していた(表3)。

4. まとめ・考察

本稿では2018年4月から2024年11月までに収載された新有効成分含有医薬品について、日本先行承認品目の特徴を調査した。日本先行承認と海外先行承認では薬価算定方式の割合に大きな違いは見られなかった(図1)ため、類似薬効比較方式(I)もしくは原価計算方式で算定された品目について複数の観点で調査を行った。

まず、希少疾病用医薬品の割合は、類似薬効比較方式(I)では日本先行承認(24%)と海外先行承認(27%)で大きな差はなかったが、原価計算方式では海外先行承認では半数以上(61%)だった

のに対し、日本先行承認では半数以下(33%)と大きな乖離があった(図2-1)。原価計算方式での算定が想定される日本先行承認は、海外先行承認に比べて希少疾病用医薬品の割合が少なくなる何らかの要因がある可能性が考えられる。要因については本稿では詳細な調査をしていないため判断は難しいが、日本先行承認品目では内資系の製造販売業者が多い傾向が見られた(図2-2)ことから、要因の候補の一つとして日本に既存治療薬がないような希少疾患に取り組む企業数が内資系企業にくらべて外資系企業に多い可能性等を検討した。その結果、内資系企業の原価計算方式・日本先行における希少疾病用医薬品は33%(5品目/15品目)、海外先行は62%(16品目/26品目)、外資系企業の原価計算方式・日本先行は40%(2品目/5品目)、海外先行は62%(23品目/37品目)となり(補足3)、内資外資を区別しない場合(日本先行が33%、海外先行が61%、図2-1)とほぼ同様の傾向であった。以上より、製造販売業者の資本(内資系・外資系)以外の要因が重要と考えられる。他の要因としては様々な可能性が考えられ、例えば、既存治療薬がない患者数の少ない疾患に対しては治験参加者数の確保等の観点でグローバル開発の方が進みやすい可能性、世界的に患者が存在する疾患の方が発症機序等の研究が進展している可能性、希少疾患の治療薬は薬価等の採算性の観点で海外先行される戦略的な側面が

ある可能性、等が挙げられる。

有用性系加算、新薬創出等加算については、いずれの算定方式についても海外先行承認に比べて日本先行承認で該当割合が小さかった(図2-3、2-4)。こちらの要因も、本稿では調査していないが様々な可能性が考えられ、例えば、海外先行の方が有用性系加算に該当しやすい可能性(国際共同治験の方が治験参加者数を含めた治験規模が大きくエビデンス創出がしやすい、もしくは、海外先行の方が日本承認時点において海外ガイドラインで推奨されている場合がある等)や、画期的新薬に取り組める企業数が日本より海外に多い可能性等があるかもしれない。先駆加算は日本先行承認が多かったが、割合としては類似薬効比較方式(I)と比べて原価計算方式で多い傾向が見られた。なお、1品目だけ海外先行承認が該当していたが、これは先駆加算に該当する先駆的医薬品の指定要件の1つである「世界に先駆けて又は同時に日本で承認申請される予定のもの」に関して、「最初の国の申請日を起算日とし、同日から3か月以内の申請は同時申請とみなす」という規定があることに由来したものであった。

日本先行承認され原価計算方式で算定された品目は、他の品目に比べて不服申立の割合が多く、その内容も算定方式や加算、新薬創出等加算に関する内容が半数以上だった。したがって、原価計算方式で算定される日本先行承認品目は、その他の品目に比べ、企業が想定する薬価算定と第一回薬価算定組織で提示される薬価算定に乖離が生じている可能性も考えられる。

患者数の調査は、希少疾病用医薬品の指定の有無により数値が大きく異なる可能性を想定し、希少疾病用医薬品の指定有無で分けて分析した。中医協資料に記載された市場規模予測のピーク時投与患者数で比較すると、希少疾病用医薬品では、算定方式に関わらず日本先行の方が海外先行より少ない傾向があるが、希少疾病用医薬品以外では、

算定方式に関わらず日本先行の方が海外先行より多い傾向が見られた(図3-1)。また、製造販売業者の資本の影響を調査したところ、日本先行・海外先行ともに患者数が少なかった「内資系企業による希少疾病用医薬品」(いずれも中央値で100人台)を除いて、算定方式別の解析とほぼ同様に、希少疾病用医薬品では日本先行の方が海外先行より少ないが希少疾病用医薬品以外では日本先行の方が海外先行より多い結果となった(図3-2)。以上より、希少疾病用医薬品と希少疾病用医薬品以外では、日本先行承認されやすい疾患の特徴が異なる可能性が考えられる。そこで、対象疾患の領域について日本先行の割合を調査した結果、腫瘍用薬では希少疾病用医薬品の方が多(希少疾病:38%、その他:16%)が、その他の代謝性医薬品(希少疾病:24%、その他:58%)では逆に希少疾病用医薬品で少ない結果となり、希少疾病用医薬品の指定の有無によって日本先行の割合が多い疾患領域が異なる傾向が見られた。

海外の承認状況については、一律に2024年12月時点で調査した結果であり、日本承認後1年に満たない医薬品も含んでいるため過小評価となっている可能性もあるが、現時点で同一成分が海外のいずれかの国で承認されているものは60%前後、承認はされていないが開発情報があるものも含めると75%以上あった。この割合が多いか少ないかについては議論があると思われるが、現時点で海外未承認だった医薬品も、海外承認済みの医薬品と同程度の割合が新薬創出等加算該当品目であり、さらに海外未承認かつ開発情報も無い医薬品であっても、海外承認済みの医薬品と同程度以上の割合で新薬創出等加算に該当していた。

日本でのみ承認されている医薬品を「カントリードラッグ」とし、「海外で通用しない新薬」^{10,11)}のようにあまり重要な医薬品でないとされる場合があるが、本稿での分析結果を踏まえば、原価計算方式又は類似薬効比較方式(I)で算定された新

10) 日本総研調査部、「薬剤給付制度の薬価偏重からの脱却を-給付対象の限定と医師の処方行動への働きかけを-」、JRIレビュー Vol.8, No.111, <https://www.jri.co.jp/MediaLibrary/file/report/jrireview/pdf/14531.pdf> (参照:2025/01/28)

11) 財務省、2024年4月16日財政制度等審議会財政制度分科会資料「こども・高齢化」https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/proceedings/material/zaiseia20240416/01.pdf (参照:2025/01/28)

有効成分含有医薬品に関しては、「日本でのみ承認されている」という状況だけでは「海外で通用しない」「海外承認済みのものに比べて有用でない」という判断には直結しないと考えられる。

また、欧米等の海外に比べて日本で患者数が多い難病希少疾患も複数あると考えられる。網羅的な調査ではないため事例紹介にとどまるが、日本で初めて報告・病因遺伝子が同定された神経疾患¹²⁾であり、指定難病もしくは小児慢性特定疾患

かつ、欧米より日本で患者数が多い可能性が示唆される記載が難病情報センター¹³⁾、小児慢性特定疾病情報センター¹⁴⁾、論文等にある疾患を調査したところ、下表のとおり複数認められた(表4)。このような海外で患者数が少ないと考えられるような疾患に関する治療薬開発の実現には、日本での先行開発・承認が必要となる可能性が高い。実際に2024年11月には表4に記載の疾患¹⁵⁾に関する治療薬が新規収載されたが、日本先行承認(原価

表4 欧米等の海外に比べて日本で患者数が多い可能性がある難病希少疾患の例

指定	疾患名	難病情報センター等の記載(抜粋)
小児慢性特定疾病 83	瀬川病	・日本で行われた2009年の全国調査で117人の瀬川病患者が報告され、世界的な頻度(1/1,000,000)とほぼ同じ頻度と考えられていたが、その後毎年20人程度の新しい患者が診断されており、現在では250程度の患者が診断され日本では50万人に1人の頻度でと考えられる ¹⁴⁾ 。
指定難病 18 (脊髄小脳変性症)	DRPLA (歯状核赤核淡蒼球萎縮症)	・合計202の日本人家族と177人の欧米白人家族が優勢遺伝性脊髄小脳変性症とされた。(中略) MJD/SCA3、SCA6、および DRPLA の相対頻度は、日本人家系(それぞれ43%、11%、20%)で有意に欧米白人家系(それぞれ30%、5%、0%)よりも高かった ^{16、17)} 。 ・DRPLA は日系人集団に最も多く認められており(以下略) ¹⁸⁾ 。
	EAOH/AOA1 (眼球運動失行と低アルブミン血症を伴う早発型失調症)	・劣性遺伝性の脊髄小脳変性症では、欧米ではフリードライヒ失調症が最も頻度が高いが、本邦ではフリードライヒ失調症は存在せず、フリードライヒ失調症と類似の運動症状を示し、眼球運動失行と低アルブミン血症を伴う早発型失調症(EAOH)が最も頻度が高い ¹⁹⁾ 。
	SCA6 (脊髄小脳変性症6型)	・合計202の日本人家族と177人の欧米白人家族が優勢遺伝性脊髄小脳変性症とされた。(中略) MJD/SCA3、SCA6、および DRPLA の相対頻度は、日本人家系(それぞれ43%、11%、20%)で有意に欧米白人家系(それぞれ30%、5%、0%)よりも高かった ^{16、17)} 。
	SCA31 (脊髄小脳変性症31型)	・SCA31は日本人にほぼ固有の脊髄小脳変性症と考えられる疾患で頻度はMJD、SCA6に次ぐか、DRPLAに次ぐ3~4位の頻度である ²⁰⁾ 。
指定難病 30 (遠位型ミオパチー)	OPDM (眼咽頭遠位型ミオパチー)	・国立精神・神経医療研究センターでの筋病理診断件数からの推計では、本邦での患者数は「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー」167~345人、「三好型ミオパチー」124~247人、「眼咽頭遠位型ミオパチー」44~88人と予測される。何れも「超」希少疾病であるが、他国と比較し本邦は患者数が多いと考えられる ¹³⁾ 。
	GNEミオパチー(縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー)	
	三好型遠位型筋ジストロフィー	
指定難病 113 (筋ジストロフィー)	福山型筋ジストロフィー	・福山型先天性筋ジストロフィーは、本邦で先天性筋ジストロフィーの中で最も多い疾患ですが、本邦と韓国・中国以外ではほとんど見られません ¹³⁾ 。

出所: CLINICAL NEUROSCIENCE Vol.41 2023年1月号(中外医学社)において、日本で初めて報告・病因遺伝子が同定されたとして特集されていた疾患の一部について、難病情報センター、小児慢性特定疾病情報センターのサイト等の記載をもとに医薬産業政策研究所がまとめた

- 12) 「CLINICAL NEUROSCIENCE Vol.41 2023年1月号 日本発の神経疾患-発見の歴史からのメッセージ」で特集されていた
 13) 難病情報センター<https://www.nanbyou.or.jp/>(参照: 2025/01/28)
 14) 小児慢性特定疾病情報センター<https://www.shouman.jp/>(参照: 2025/01/28)
 15) 縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおける筋力低下の進行抑制: 中央社会保険医療協議会 総会(第598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/10808000/001330897.pdf>(参照: 2025/01/28)
 16) Takano et al. Am J Hum Genet. 1998 Oct; 63(4): 1060-6
 17) 高野 弘基、新潟医学雑誌 第112巻 第8号 平成10年8月、452-464
 18) Carroll et al. Tremor Other Hyperkinet Mov (N Y). 2018 Oct 1; 8: 577.
 19) 横関 明男、新潟医学会雑誌 第128巻 第1号 平成26年(2014)1月、1-6
 20) 石川 欽也 他、臨床神経 2011; 51: 1122-1124

計算方式での算定)であった。

上記のような難病希少疾患の治療薬の開発は、技術面や費用面等の様々なハードルがあり非常に困難であることが予想され、治療薬開発促進には研究開発の支援や上市後の薬価制度も含めた様々な対策が必要と考えられる。したがって、海外での承認状況に関わらず日本で新薬が開発・承認されやすい環境を整備することは、革新的新薬の日本への迅速導入に加えて、海外より日本で患者数が多い疾患の治療薬開発促進のためにも重要と考えられる。

5. おわりに

本稿では、中医協資料で初承認国が日本と記載

のある新医薬品を日本先行承認と定義し、薬価算定、対象疾患等の特徴や、海外状況の観点で調査、分析した。その結果、希少疾病用医薬品、有用性系加算、新薬創出等加算、不服申立の実施等の様々な項目で、日本先行と海外先行で傾向に違いがあることがわかった。また、今回の調査時点で海外未承認の品目であっても海外承認済みと同程度の割合で収載時に新薬創出等加算に該当していたことが分かった。革新的新薬の日本への迅速導入に加え、海外より日本で患者数が多い疾患の治療薬開発促進のためにも、海外での承認状況に関わらず日本で新薬が開発・承認されやすい環境整備が今後も進むことが期待される。

補足1 日本先行承認品目の不服申立の主な主張内容（算定方式別）

	収載年月	主張内容 (概要)	主張内容 (分類)	結果	
原価計算方式	日本先行	2020.5 ・有用性加算 (③ -a) ・製品総原価 (追加資料提出)	加算 原価	×認められず ○認められた (加算係数も変更)	
		2022.4 ・新創加算 (別表10:要件1、3)	新創加算	×認められず	
		2022.5 ・一般管理販売費の計上	原価	×認められず	
		2024.11 ・有用性加算 (③ -b) ・有用性加算 (③ -e) ・研究開発費用の計上	加算 加算 原価	○認められた (有II→有I) ×認められず ×認められず	
	海外先行	2021.5 ・国内臨床試験の費用計上 (追加資料提出)	原価	○認められた	
		2021.8 ・患者数の修正 ・研究開発費用の計上 (追加資料提出)	原価 原価	○認められた ○認められた	
		2022.5 ・算定方式 (類似薬効比較方式→原価計算方式) ・新創加算 (別表10:要件1)	算定方式 新創加算	○認められた ×認められず	
		2023.12 ・画期性加算 >有用性加算 (① -c) >有用性加算 (① -d) >有用性加算 (② -1a)	加算 加算 加算	×認められず ×認められず ×認められず	
	類似薬効比較方式(I)	日本先行	2018.5 ・有用性加算II	加算	×認められず
			2020.5 ・有用性加算 (より高い加算率)	加算	×認められず
2023.3 ・規格間比の変更			規格間比	○認められた	
海外先行		2019.11 ・一日薬価に用いる投与量 ・剤形間比の変更	一日薬価 剤形間比	×認められず ×認められず	
		2020.8 ・有用性加算II ・外国平均価格調整の実施	加算 外国平均 価格調整	×認められず ×認められず	
		2022.5 ・有用性加算II (③ -b)	加算	×認められず	
		2022.11 ・一日薬価に用いる日数 ・比較薬の一日薬価に用いる体重	一日薬価 一日薬価	○認められた ×認められず	
		2023.11 ・算定方式 (新医療用配合剤の特例→類似薬効比較方式(I)) ・有用性加算 (③ -c)	算定方式 加算	○認められた ×認められず	
		2024.4 ・比較薬の一日薬価に用いる体重 ・有用性加算 (③ -c) ・新創加算 (要件⑩)	一日薬価 加算 新創加算	○認められた ×認められず ○認められた	
		2024.11 ・汎用規格の変更	汎用規格	×認められず	
		2024.11 ・一日薬価に用いる体重 ・一日薬価に用いる投与期間	一日薬価 一日薬価	×認められず ×認められず	
		2024.11 ・有用性加算 (③ -f)	加算	×認められず	

注：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

出所：2018年4月～2024年11月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、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が作成

補足2 薬効分類ごとの日本先行承認品目の割合（希少疾病用医薬品への該当別）

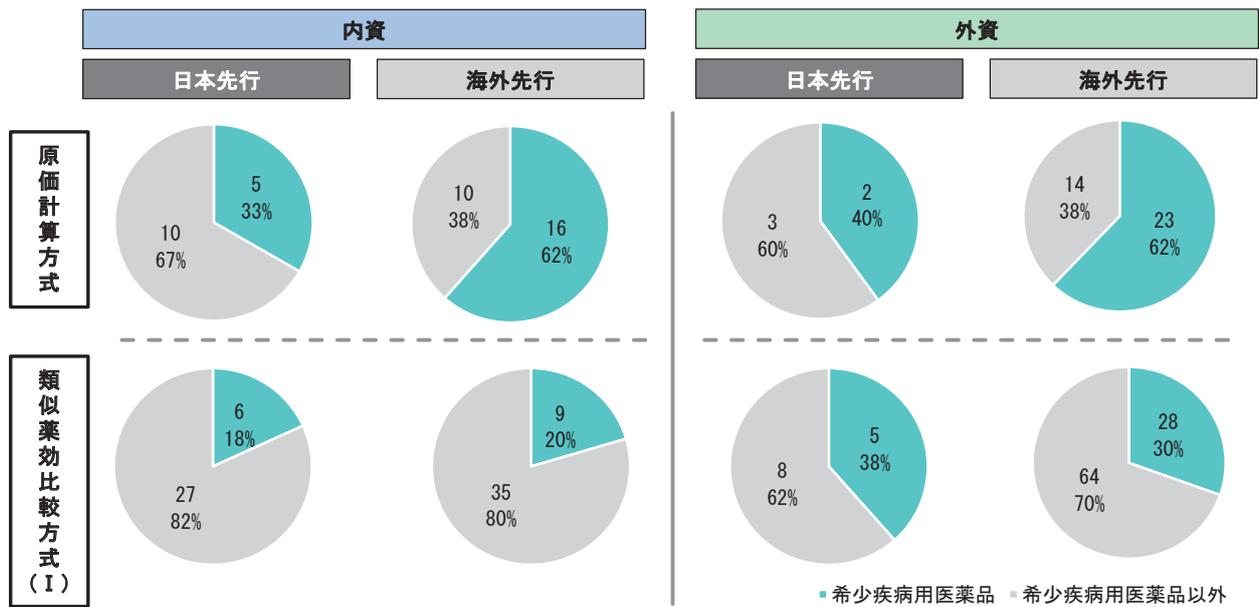
薬効分類		希少疾病用医薬品		その他	
110	中枢神経系用薬	0%	0/2	18%	4/22
120	末梢神経系用薬	0%	0/3	50%	2/4
130	感覚器官用薬	0%	0/2	50%	1/2
190	その他の神経系及び感覚器官用医薬品	100%	2/2	—	0/0
210	循環器用薬	0%	0/2	31%	4/13
220	呼吸器用薬	100%	1/1	60%	3/5
230	消化器用薬	—	0/0	80%	4/5
240	ホルモン剤（抗ホルモン剤を含む）	0%	0/1	10%	1/10
250	非尿生殖器官及び肛門用薬	0%	0/1	33%	1/3
260	外皮用薬	0%	0/1	67%	2/3
270	歯科口腔用薬	—	0/0	0%	0/1
320	滋養強壮薬	—	0/0	50%	2/4
330	血液・体液用薬	0%	0/4	0%	0/1
390	その他の代謝性医薬品	24%	5/21	58%	14/24
420	腫瘍用薬	38%	9/24	16%	7/43
430	放射性医薬品	—	0/0	33%	1/3
440	アレルギー用薬	0%	0/3	33%	2/6
610	抗生物質製剤	0%	0/2	0%	0/7
620	化学療法剤	0%	0/12	13%	1/8
630	生物学的製剤	8%	1/12	0%	0/9
640	寄生動物用薬	0%	0/1	—	0/0

注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：太字は、希少疾病用医薬品又は希少疾病用医薬品以外のいずれかで、該当する品目数（日本先行、海外先行の品目数の合計）が10以上の薬効分類番号。該当品目がない番号は省略した。

出所：2018年4月～2024年11月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、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が作成

補足3 日本先行／海外先行承認品目における希少疾病用医薬品の割合（算定方式、内資外資別）



注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会 総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

注3：製造販売業者の内資、外資の判断は本社所在地や出資者等をもとに医薬産業政策研究所が行った。判断が困難だった1社を解析から除外した。

出所：2018年4月～2024年11月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、中央社会保険医療協議会 資料、各医薬品のインタビューフォーム、各社のホームページをもとに医薬産業政策研究所が作成

主な活動状況（2024年11月～2025年2月）

11月	1日	政策研ニュース No.73発行	
	15日	ポジションペーパー・シリーズ No.4 発行	「健康医療情報の効果的な利用に向けた情報の連携」
	28日	講義	「医薬品産業におけるイノベーション」 医薬産業政策研究所 所長 山田 謙次 (成城大学『政策イノベーション特殊講義』)
12月	20日	ポジションペーパー・シリーズ No.5 発行	「低分子医薬品を創出した米国 EBP に関する調査」
2月	12日	ポジションペーパー・シリーズ No.6 発行	「医薬品の価値を評価する薬価算定ルールについての考察」 －ポジションペーパー No.3「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」の続篇－

レポート・論文紹介（2024年11月～）

ポジションペーパー・シリーズ No.4 発行

「健康医療情報の効果的な利用に向けた情報の連携」

【要旨】

健康医療情報の利用は、より質の高い医療の提供を受けたり、日常的な健康管理のための利用が期待されているとともに、公衆衛生に対する政策立案や、新たな医薬品や医療機器の創出への利用も期待されており、データ駆動型の意思決定において重要な役割を果たす。健康医療情報を効果的に利用するためには、必要が生じた時に必要な情報が直ちに利用できる環境が重要となるが、現在の国内の医療情報の連携基盤は複数のデータベースが分散して存在しており、多様な情報の保有者から収集される情報の流通を管理又は把握する包括的な仕組みが存在していない。欧州において構築が予定されている EHDS（European Health Data Space）では、情報管理と利用審査を一元的に行う、Health Data Access Body という組織が、加盟国内の健康医療情報を利用する際に重要な役割を果たすこととなっている。この組織が情報流通のハブとして機能することにより、情報利用時のセキュリティ確保とイノベーション促進の両立を行うことが可能となる。EHDS の Health Data Access Body を参考にし、国内でも類似する機能を設置することにより、より多様な情報量の多い健康医療情報が利用可能となると考えられる。これらの状況を踏まえて、厚生労働省が構想している二次利用基盤の中で健康医療情報連携の中心を担う公的な組織を設置することを提案した。

ポジションペーパー・シリーズ No.5 発行

「低分子医薬品を創出した米国 EBP に関する調査」

【要旨】

日米欧の2極以上で承認された品目（グローバル承認品目）のうち低分子品の研究開発段階における特許出願数は、各国が2010年以降低下していた中、米国EBPだけはその数を維持していた。その多くは抗悪性腫瘍薬であり、また薬事優遇措置としての Orphan Drug Designation 取得率は高かった。

グローバル低分子品を創出した米国EBP（米国低分子創出EBP）の特徴は、起業時にはアカデミア人材に加えて製薬業界でマネジメント経験者が関与していること、設立したEBPにて、ターゲットに対するアクセス分子を探索することで最適分子決定し、医薬品における利益の源泉となる基本特許を取得していた。取得した分子に対して開発ステージを問わず提携を模索していた。

それらの米国低分子創出EBPは、NIH グラントを獲得し、その後はベンチャーキャピタル（VC）から継続的に資金を調達し、一部のEBPはIPOを達成していた。そして最終的には6割弱のEBPがいずれかの製薬企業に買収されていた。米国由来低分子品において、EBP由来品の2013-2023年のピークセールスは、非EBP由来品の34%であった。

以上のことから、米国低分子創出EBPは、アカデミア由来のコンセプトを製品化する過程において、標的特異性の高い分子設計と基本特許取得はEBP自社内で達成し、品目提携や企業買収により臨床試験から上市に至るまでの研究開発を遂行できたと考えられた。資金面においてVCから継続的な資金調達を達成できたのは、優れたCore技術、人材を有利活用、患者数が少ないが重要な疾患領域を標的とするなど大手製薬とは異なる特色を持つことに加え、米国における整った投資環境によるものと考えられた。

最後に、日本の製薬企業として、自社における創薬研究活動において参考にできる点、日本の製薬企業による国内EBP支援方法などについて考察した。

ポジションペーパー・シリーズ No.6 発行

「医薬品の価値を評価する薬価算定ルールについての考察」

－ポジションペーパー No.3「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」の続篇－

【要旨】

革新的な創薬研究・開発を持続的に行うためにはイノベーションを適切に評価する制度が必要と考え、ポジションペーパー No.3「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」では、日本の薬価制度に向けた価値評価のあり方を「医療的な価値」と「社会的な価値」の側面から問題提起した。その続篇である本ペーパーではこれら価値評価の問題点と課題に対して新たな解決案を考察した。

革新的な医薬品が新たに産み出した医療的な価値を十分な評価に結び付けるためには、ステークホルダーにとって価値に基づいた納得度の高い評価がなされることが重要である。ここでは、納得度を高める算定方式の新たな案として、アンメットニーズの高い疾病を対象として類似薬の範囲を広げる「類似希少性等比較方式」と、既存の算定方法では評価が困難な一部の品目を対象として企業が申請した価格を協議し薬価を決定する「申請価格説明方式」の2つの算定方式を考案した。

また、新たな加算項目として、革新的な医薬品がもたらす「社会への便益」を適切に評価されることを目的とした「社会貢献加算」、より希少性の高い疾病の治療薬の開発にむけて多くのプレイヤーの参入促進を目的とした「萌芽性加算」の新設を考案した。

特に「社会貢献加算」においては、Payerが受容しやすいよう定量化による評価が可能な「労働生産性」や「介護負担の軽減」等の要素が妥当であると考えて検討した。

また、現行の原価計算方式は製品総原価の開示が困難となりつつあるため、現在の開示度に応じた加算係数を緩和すること、希少疾病用医薬品においては加算係数の一部適用除外についても検討している。

最後に、これら考案した新たな制度の導入可能性を高めるための検討を行い、革新的な医薬品の持続的な創出を妨げない実現可能性の高い新たな薬価制度の一考察としてここに公表する。

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
2025年3月発行

〒103-0023
東京都中央区日本橋本町2-3-11
日本橋ライフサイエンスビル7階

TEL 03-5200-2681

FAX 03-5200-2684

MAIL opir-sp@jpma.or.jp

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

無断転載を禁ずる