

# 政策研ニュース No.77

OPIR Views and Actions

2026年3月

## 目次

### 目で見る製薬産業

NDB オープンデータでみた小児アトピー性皮膚炎検査と処方薬の推移	医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治…… 1
アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認状況	医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子
	医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治……14
世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍 - 2024年の動向 -	医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔
	医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美……23
米国開発パイプラインのオリジネーター企業に関する調査	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 森本 潔
	医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔……34
創薬における地理的集積度の重要性 - 創薬オリジネーターおよび創薬支援環境の都市圏間比較 -	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 吉浦 知絵
	医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔……41

### Points of View

日本先行承認された新医薬品の特徴と関連要因についての調査 - 薬価算定・海外状況の観点から -	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……54
医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況 - 2025年6月までの動向分析 -	医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子
	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 枝廣 誠……71

### 政策研だより

主な活動状況 (2025年11月～2026年2月) ……………	78
レポート・論文紹介 (2025年11月～) ……………	79

## NDB オープンデータでみた 小児アトピー性皮膚炎検査と処方薬の推移

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治

### 要約

- 「学校保健統計調査」の2015～2024年度の10年間データを用いて小児アトピー性皮膚炎の被患率推移を分析した結果、幼稚園児の被患率は男女とも年5%以上の減少率を示し、小学生の被患率は若干の減少傾向であった。
- 対して、中学生女子、高校生男女の被患率は約年2%の増加率が示され、小児アトピー性皮膚炎は高年齢群で増加していることが示唆された。
- これらの結果を受け、2015～2023年度のNDBオープンデータから、小児患者の特異的アトピー性皮膚炎検査の算定回数、ストロング以上の強度を有するステロイド外用剤の小児処方量、新規薬理作用医薬品の小児処方量の年度推移を分析し被患率との関係を観察した。
- 特異的アトピー性皮膚炎検査の算定回数は0～4歳群で減少が示されたが、5歳以上の各群は増加を示し、特に高年齢群で顕著に高い増加率が示された。
- ストロング以上のステロイド外用剤処方量はいずれの群でも著しい増加が示され、被患率と検査算定数の推移からみると想定外の結果であった。
- 新規薬理作用医薬品の処方量は近年顕著に増加しており、外用薬では低年齢群の処方が多く、抗体医薬、内服JAK阻害薬は15歳以上の処方が多くを占めた。

- 小児アトピー性皮膚炎の被患率と治療薬処方量との関係は明らかではなかった。近年のアトピー性皮膚炎治療薬の進歩は目覚ましく、症状の病因分子に特異的に作用することから小児患者個々のアンメットニーズを更に充足することが期待される。同時に安全面への細心の注意を払った適正使用の推進活動が強く求められる。

### 1. はじめに

「学校保健統計調査」<sup>1)</sup>は、統計法に基づく基幹統計調査（基幹統計である学校保健統計を作成するための調査）として、学校における幼児、児童及び生徒の発育及び健康の状態を明らかにすることを目的とした標本調査である。文部科学省HPによると明治33年（1900年）に「生徒児童身体検査統計」の名称で開始されたとあり、昭和23年（1948年）に「学校衛生統計」に名称改定、昭和35年（1960年）に現在の名称に改定され、2025年12月現在、令和6年度（2024年度）の調査結果が公表されている大変歴史のある児童調査である。調査対象の範囲は、幼稚園、小学校、中学校、義務教育学校、高等学校、中等教育学校及び幼保連携型認定こども園のうち、文部科学大臣があらかじめ指定する学校に在籍する満5歳から17歳（4月1日現在）までの幼児、児童及び生徒と定義されている。

標本は学校基本調査の結果を基に作成した学校基本調査台帳を母集団名簿としており、抽出方法

1) 文部科学省ホームページ、「学校保健統計調査－結果の概要」

[https://www.mext.go.jp/b\\_menu/toukei/chousa05/hoken/kekka/1268813.htm](https://www.mext.go.jp/b_menu/toukei/chousa05/hoken/kekka/1268813.htm)（2025.12.25最終確認）

として、1. 児童等の発育状態調査は層化二段無作為抽出法、2. 児童等の健康状態調査は層化集落抽出法が用いられ、調査事項は、1. 発育状態調査：(1)身長 (2)体重、2. 健康状態調査：(1)栄養状態、(2)脊柱・胸郭・四肢の状態、(3)裸眼視力、(4)眼の疾病・異常、(5)難聴、(6)耳鼻咽頭疾患、(7)皮膚疾患、(8)結核に関する検診、(9)結核、(10)心電図異常、(11)心臓、(12)蛋白検出、(13)尿糖検出、(14)その他の疾病・異常、(15)歯・口腔、(16)永久歯のう歯数等、となっており、各調査項目の目標精度が5%未満に保たれるよう調査設計されている。(7)皮膚疾患の項で“アトピー性皮膚炎”の被患率推定値が、(14)その他の疾病・異常の項で“ぜん息”、“腎臓疾患”、“言語障害”、“その他の疾病・異常”の被患率推定値が示されている。具体的な疾病が示されているものはアトピー性皮膚炎、結核、う歯、ぜん息のみである。各都道府県は域内の幼児、児童及び生徒の発育状態や疾患、検査値異常の保有割合を全国平均と比較して示す等、自治体の児童の健康管理への意識向上を目的として積極的に公表している。本研究では学校保健統計調査の疾病・検査値異常の中からアトピー性皮膚炎の小児被患率とその推移に着目し、NDBオープンデータ（以下、NDBOD）<sup>2)</sup>を用いて、アトピー性皮膚炎の特異的検査の小児患者の算定回数及び年度推移、アトピー性皮膚炎治療に従来用いられているステロイド外用剤、近年治療の game changer となっている新規薬理作用を有する医薬品の小児処方量及び年度推移との関係を観察する。

## 2. 調査方法

2015～2024年度の学校保健統計調査から幼稚園、小学校、中学校、高校の幼児、児童、生徒のアトピー性皮膚炎被患率を学校種類別、男女別、都市規模別に収集し、被患率の年平均変化率（Annual Percent Change：以下、APC）を計算した。

なおここでの被患者定義は、学校の健康診断に基づいて学校医によって判定された者である。加えて健康診断で疾病・異常と判定されなかったが医療機関で医師から疾病・異常と診断され、そのことを学校が把握している場合も被患者として扱われる。しかし治療によって疾病・異常の疑いがなく経過観察と判定された場合は計上しないとしている。各年の健康状態調査の対象となった集団母数は巻末の別表1に示す。

アトピー性皮膚炎の検査の算定回数と治療薬の処方量はNDBOD第2回（2015年度）～第10回（2023年度）を用い、男女0～19歳の処方薬数量を5歳毎年年齢級別に集計した。なお箇所によって便宜的に0～4歳群と5～9歳群を低年齢群、10～14歳群と15～19歳群を高年齢群と表現する。検査は「D検査\_性年齢別算定回数」から、「アトピー性皮膚炎診療ガイドライン2024（以下、診療ガイドライン）」<sup>3)</sup>に掲載されている5種類の診断、重症度評価のバイオマーカーのうち、特異的マーカーとして“TARC（thymus and activation-regulated chemokine）”と“SCCA2（squamous cell carcinoma antigen 2）”を集計した。診療ガイドラインに掲載されている薬物療法のうち、外用剤は「外用剤\_性年齢別薬効分類別数量 外来（院内）（院外）」からステロイド外用剤（抗生物質・抗菌剤配合剤、ローション製剤を除く）、新規薬理作用外用剤として“tacrolimus”、“delgocitinib”、“difamilast”を集計、モノクローナル抗体医薬品は「注射\_性年齢別薬効分類別数量外来（院内）（院外）」から“dupilumab”、“nemolizumab”、“tralokinumab”を集計、内服ヤヌスキナーゼ（JAK）阻害薬は「内服\_外来\_性年齢別薬効分類別数量（院内）（院外）」から“baricitinib”、“upadacitinib”、“abrocitinib”を集計した。

診療ガイドラインに示すよう「ステロイド外用剤は「アトピー性皮膚炎治療の基本となる薬剤で

2) 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>（2025.12.25最終確認）

3) 公益社団法人日本皮膚科学会 一般社団法人日本アレルギー学会 アトピー性皮膚炎診療ガイドライン策定委員会編「アトピー性皮膚炎診療ガイドライン2024」日本皮膚科学会雑誌：134（11）、2741-2843、2024

<https://www.dermatol.or.jp/dermatol/wp-content/uploads/xoops/files/guideline/ADGL2024.pdf>

あり（CQ1：推奨度1、エビデンスレベル：A）、個々の皮疹の重症度に応じて適切な強さ（ランク）のステロイド薬を選択すること」となっている（表1）。ここでは、JAK阻害薬やモノクローナル抗体医薬品等の新規薬理作用医薬品の上市にともなう、強力なステロイド外用剤の処方量の変化を観察するために「ストロング」ランク以上のステロイド外用剤の処方量を集計した。なお、ステロイド外用剤はアトピー性皮膚炎以外の皮膚炎、皮膚症状の治療にも用いられており、NDBODでは疾病に紐づいた処方を確認することはできないため処方量の変化はあくまで推論に留まる。抗生物質・抗菌剤配合剤、ローション製剤を除いた理由は、前者は感染性皮膚疾患、後者は頭皮に発症

する皮膚炎（脂漏性湿疹等）への処方の可能性が高いと考えたためである。またローション剤の処方単位はmLとなっているものが多いため、処方単位量の推移を表現するにあたりg単位で統一するためでもある。新規薬理作用医薬品の注意点として、dupilumabは2018年4月に成人（15歳以上）の「既存治療で効果不十分なアトピー性皮膚炎」で承認された後、2019年3月に12歳以上のコントロール不良の重症もしくは難治性の「気管支喘息」に、2023年9月に生後6ヶ月以上の「既存治療で効果不十分なアトピー性皮膚炎」、2024年2月に12歳以上の「既存治療で効果不十分な特発性の慢性蕁麻疹」の小児適応が拡大されたため、処方単位量はこれら疾患の合算となる。またbaricitinibは2024年3月に2歳以上の「既存治療で効果不十分なアトピー性皮膚炎」と「多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎」に適応拡大された。

表1 ステロイド外用薬のランク

表8 ステロイド外用薬のランク
<p>ストロングI (I群)</p> <p>0.05% クロベタゾールプロピオン酸エステル (デルモベート®)</p> <p>0.05% ジフロラゾン酢酸エステル (ダイアコート®)</p> <p>ペリーストロング (II群)</p> <p>0.1% モメタゾンフランカルボン酸エステル (フルメタ®)</p> <p>0.05% ベタメタゾン酢酸エステルプロピオン酸エステル (アンテベート®)</p> <p>0.05% フルオシノニド (トプシム®)</p> <p>0.064% ベタメタゾンジプロピオン酸エステル (リンデロンDP®)</p> <p>0.05% ジフルプレドナート (マイザー®)</p> <p>0.1% アムシノニド (ビスターム®)</p> <p>0.1% ジフルコルトロン吉草酸エステル (テクスメテン®, ネリゾナ®)</p> <p>0.1% 酪酸プロピオン酸ヒドロコルチゾン (バンデル®)</p> <p>ストロング (III群)</p> <p>0.3% デプロドンプロピオン酸エステル (エクラー®)</p> <p>0.1% デキサメタゾンプロピオン酸エステル (メサデルム®)</p> <p>0.12% デキサメタゾン吉草酸エステル (ポアラ®, ザルックス®)</p> <p>0.12% ベタメタゾン吉草酸エステル (ベトネベート®, リンデロンV®)</p> <p>0.025% フルオシノロンアセトニド (フルコート®)</p> <p>ミディアム (IV群)</p> <p>0.3% フレドニゾン吉草酸エステル酢酸エステル (リドメックス®)</p> <p>0.1% トリアムシノロンアセトニド (レダコート®)</p> <p>0.1% アルコメタゾンプロピオン酸エステル (アルメタ®)</p> <p>0.05% クロベタゾン酪酸エステル (キンダベート®)</p> <p>0.1% ヒドロコルチゾン酪酸エステル (ロコイド®)</p> <p>0.1% デキサメタゾン (グリメサゾン®, オイラゾン®)</p> <p>ウィーク (V群)</p> <p>0.5% フレドニゾン (フレドニゾン®)</p>
<p>(2023年6月現在)</p> <p>米国のガイドラインではステロイドを7つのランク (I. very high potency, II. high potency, III-IV. medium potency, V. lower-medium potency, VI. low potency, VII. lowest potency) に<sup>75)</sup>、ヨーロッパでは4つのランク (very potent, potent, moderate potency, mild potency) に分けている<sup>115)</sup>。海外の臨床試験データを参考にする場合には、日本とはステロイド外用薬のランクの分類が違うことに注意する必要がある。</p>

佐伯秀久, 大矢幸弘, 古田淳一ほか: アトピー性皮膚炎診療ガイドライン2021, 日皮会誌, 2021; 131: 2691-2777. より改変して転載

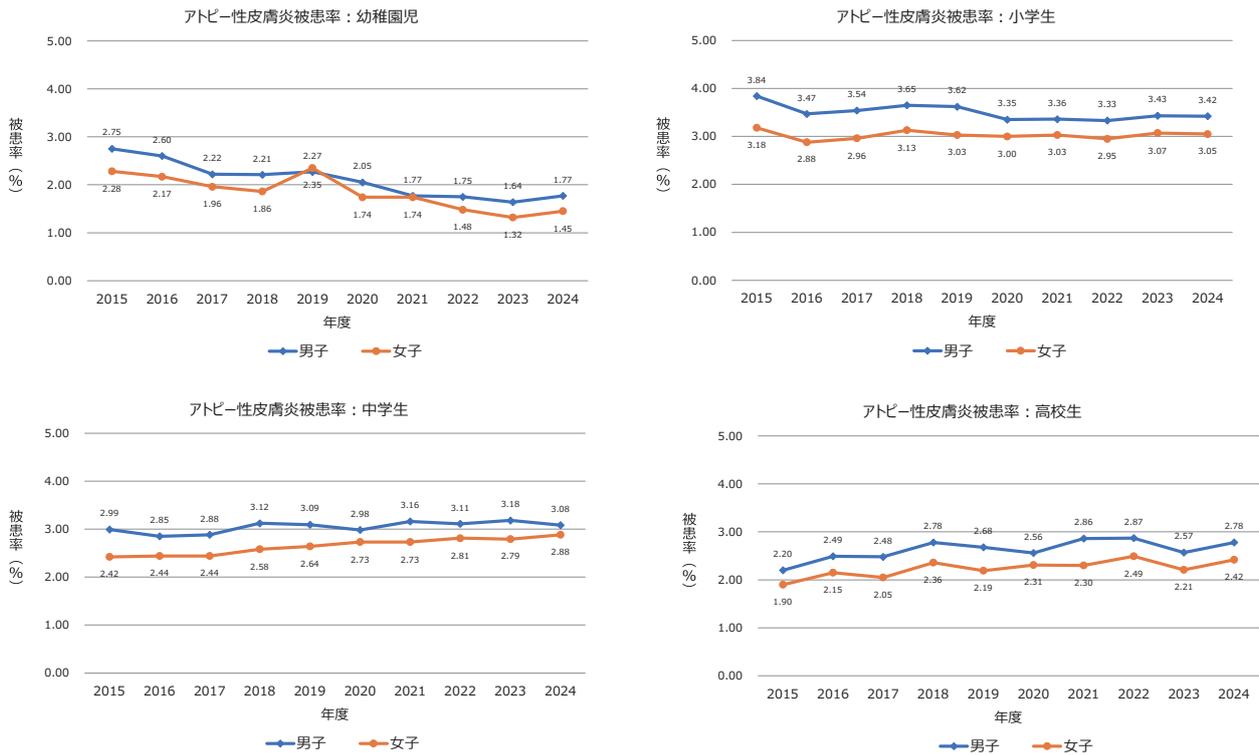
出典) アトピー性皮膚炎診療ガイドライン2024  
日本皮膚科学会雑誌: 134 (11), 2741-2843, 2024

被患者率推定値の年平均変化率 (APC) は引用資料<sup>4)</sup>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) 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、以降は上位100品目・上位300品目・上位500品目が公表されたことから、以前のデータと整合性を取るため第9、10回を上位100品目までを集計対象とした。ただし内服JAK阻害薬については第9回NDBOD (2022年度) から小児年齢階級の処方単位量が本格的に現れたが、上位100品目では十分に集計ができなかったため上位300品目までを集計

4) 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1 アトピー性皮膚炎被患率推移（学校種別）



引用1)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

対象とした。

### 3. 結果

#### (1) アトピー性皮膚炎被患率

2015～2024年度の学校保健統計調査から、学校種別、男女別にアトピー性皮膚炎の被患率推定値の推移を図1に示す。

- ・幼稚園：男子2015年度2.75%、2024年度1.77%、APC ▲5.4%、女子2015年度2.28%、2024年度1.45%、APC▲5.6%と男女とも年減少率が極めて大きかった。
- ・小学生：男子2015年度3.84%、2024年度3.42%、APC ▲1.1%、女子2015年度3.18%、2024年度3.05%、APC▲0.0%と男女とも若干の減少傾向であった。
- ・中学生：男子2015年度2.99%、2024年度3.08%、APC0.9%、女子2015年度2.42%、2024年度2.88%、APC2.1%と、女子の年増加率は男子の倍であった。
- ・高校生：男子2015年度2.20%、2024年度2.78%、APC1.9%、女子2015年度1.90%、2024年度2.42%、

APC2.0%と、男女は同等の年増加率であった。

都市階級別の被患率推移（表2）をみると、男女とも「大都市」の幼稚園児の減少が大きく（APC；男子▲6.6%、女子▲8.1%）、「町村」では中学生女子に増加（APC2.7%）が認められた以外、大きな変化は認められなかった。また、「大都市」高校生は男女とも全体に比して年増加率は小さかった（APC；男子0.4%、女子1.1%）が、「小都市」高校生は全体以上の増加（APC；男子2.9%、女子3.3%）が認められた。

#### (2) アトピー性皮膚炎検査

2015～2023年度NDBODから、アトピー性皮膚炎特異的な検査である“TARC”および“SCCA2”の算定回数を0歳から19歳まで5歳刻みで集計し年齢階級別、男女別に推移をみた（図2）。なおSCCA2は15歳以下までが保険適応である。0～4歳群は算定回数の最も多い群であったが、APCは男子▲3.5%、女子▲2.1%と減少していた。5～9歳群のAPCは男子4.9%、女子5.3%、10～14歳群のAPCは男子11.3%、女子11.2%、15～19歳群の

表2 都市階級別アトピー性皮膚炎被患率 年度推移 (%)

男子

区分		年度										APC(%)
都市階級	学校種	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	
大都市	幼稚園	2.84	2.78	2.34	2.01	2.13	1.86	1.58	1.83	1.39	1.75	-6.6
	小学生	4.07	3.78	3.50	3.44	3.73	3.38	3.07	3.51	3.57	3.33	-1.6
	中学生	2.89	3.01	3.05	3.05	2.95	2.95	3.41	2.94	3.14	3.06	0.6
	高校生	2.26	2.75	2.62	3.01	2.78	2.50	2.83	2.59	2.53	2.72	0.4
中都市	幼稚園	2.88	2.57	1.94	2.32	2.27	2.20	1.46	2.01	1.78	1.70	-5.1
	小学生	3.55	3.06	3.38	3.52	3.30	3.22	3.40	3.02	3.25	3.13	-0.8
	中学生	3.14	2.58	2.80	3.04	3.17	2.96	2.97	2.98	3.04	2.98	0.5
	高校生	2.05	2.14	2.37	2.64	2.56	2.54	2.47	2.88	2.32	2.65	2.2
小都市	幼稚園	2.68	2.69	2.44	2.31	2.44	1.75	2.06	1.39	1.72	1.97	-5.5
	小学生	3.95	3.68	3.81	3.97	3.72	3.58	3.46	3.46	3.56	3.77	-1.0
	中学生	3.00	2.97	2.75	3.13	3.01	3.05	3.14	3.25	3.46	2.91	1.0
	高校生	2.26	2.64	2.37	2.94	2.78	2.59	3.29	3.03	2.83	3.06	2.9
町村	幼稚園	1.95	2.19	1.79	1.88	1.76	2.83	1.55	1.47	1.84	1.95	-1.4
	小学生	3.60	3.25	3.35	3.91	3.75	2.82	4.02	3.70	3.20	4.08	0.8
	中学生	2.77	3.30	3.69	3.57	3.06	2.72	3.28	4.50	3.23	3.40	1.4
	高校生	2.53	2.79	2.72	2.77	2.38	3.16	3.21	3.43	2.18	2.86	0.8

女子

区分		年度										APC(%)
都市階級	学校種	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	
大都市	幼稚園	2.49	2.28	2.17	1.54	1.97	1.46	1.85	1.44	0.92	1.31	-8.1
	小学生	3.38	2.95	2.89	3.01	3.06	3.15	2.76	3.12	3.29	2.93	-0.2
	中学生	2.46	2.43	2.71	2.58	2.57	2.83	3.16	2.70	2.88	2.89	2.0
	高校生	2.02	2.42	2.04	2.33	2.31	2.37	2.07	2.49	2.28	2.42	1.1
中都市	幼稚園	2.13	2.05	1.71	1.87	2.45	1.78	1.51	1.76	1.47	1.25	-4.7
	小学生	3.01	2.60	2.82	2.97	2.75	2.87	3.08	2.69	2.87	2.86	0.1
	中学生	2.49	2.30	2.30	2.44	2.82	2.67	2.54	2.74	2.61	2.88	1.9
	高校生	1.84	1.80	2.00	2.43	2.07	2.33	2.16	2.44	2.05	2.19	2.0
小都市	幼稚園	2.34	2.34	2.19	2.21	2.56	1.82	1.75	1.32	1.27	1.77	-6.1
	小学生	3.17	3.11	3.21	3.42	3.12	3.06	3.08	3.07	3.15	3.38	0.1
	中学生	2.44	2.62	2.32	2.63	2.43	2.87	2.65	2.80	2.96	2.69	1.7
	高校生	1.86	2.31	1.93	2.50	2.18	2.14	2.72	2.47	2.34	2.82	3.3
町村	幼稚園	1.66	1.48	1.41	2.22	1.98	2.51	1.37	1.45	1.87	1.67	0.4
	小学生	3.27	2.88	2.86	3.31	3.24	2.61	3.56	2.75	2.92	3.51	0.3
	中学生	2.21	2.71	3.06	2.74	2.52	2.14	2.59	4.31	2.81	2.99	2.7
	高校生	2.05	2.17	2.66	2.52	2.26	3.38	2.52	2.64	1.65	2.41	-0.1

引用1)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

APCは男子12.1%、女子10.2%であった。年齢が上がるに従って検査の算定回数は少なくなっていたが、APCは高齢群で顕著に増加していた。

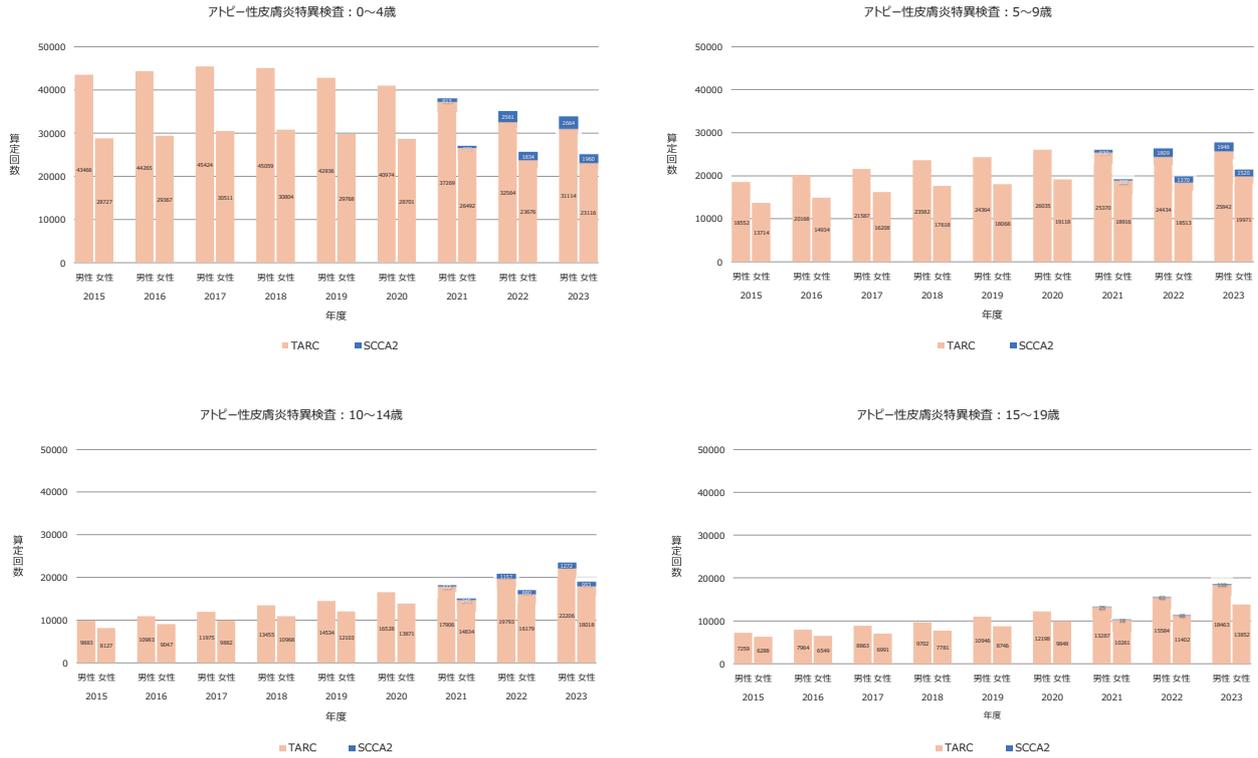
(3) ステロイド外用剤

先と同様に、年齢階級別、男女別にみたストロ

ングランク以上のステロイド外用剤の処方単位量(kg)の推移を図3に示す。

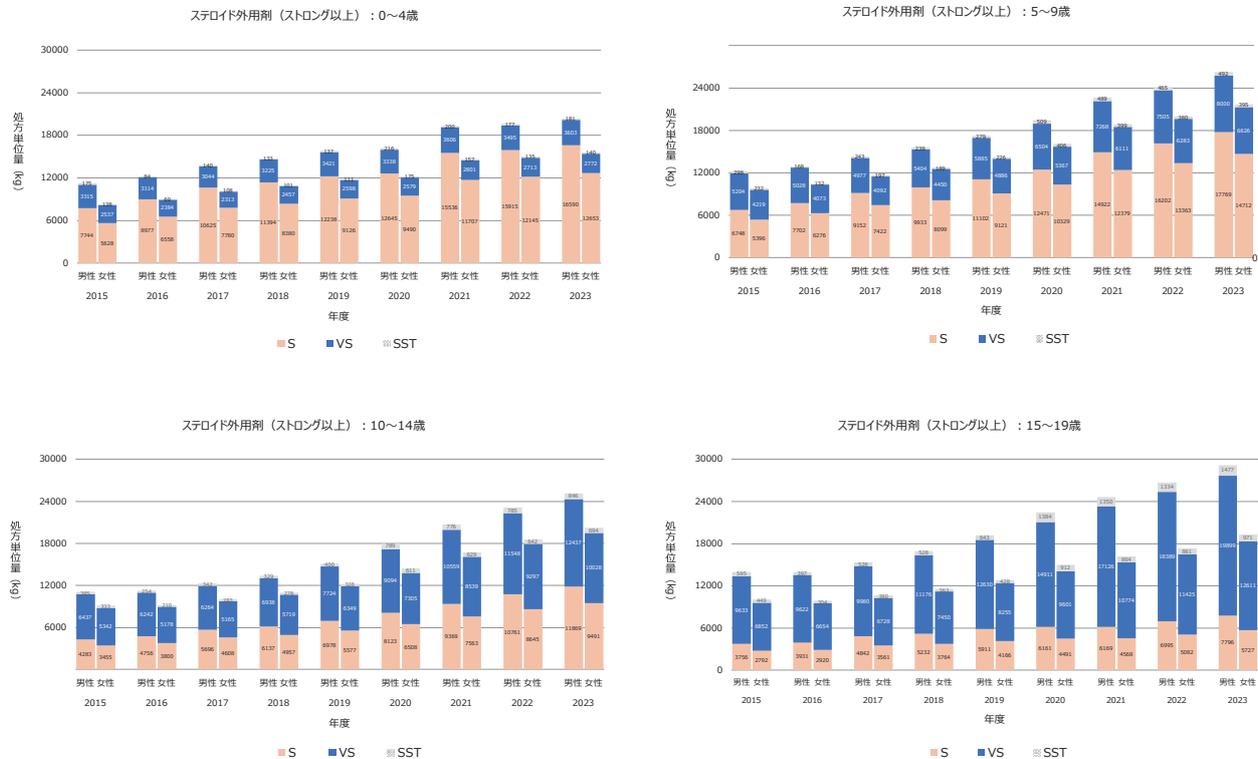
- ・0～4歳群：全体のAPCは男子7.9%、女子8.5%と顕著な増加が認められた。男女ともにストロング(S)の処方量が最も多く、ストロングAPCは男子9.8%、女子10.6%と増加を牽引して

図2 アトピー性皮膚炎特異的検査 算定回数の推移



引用2)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 ステロイド外用剤 処方単位量の推移 (ストロングランク以上)



S : strong, VS : very strong, SST : strongest  
引用2)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

いた。ベリーストロング（VS）の APC は男子 1.8%、女子 2.0%、ストロングゲスト（SST）の APC は男子 6.1%、女子 5.8%であった。

- ・ 5～9 歳群：全体の APC は男子 10.6%、女子 11.1%であった。男女ともにストロング量が最も多く、ストロング APC は男子 13.0%、女子 13.4%、ベリーストロング APC は男子 6.7%、女子 7.1%、ストロングゲスト APC は男子 12.8%、女子 13.3%であった。
- ・ 10～14 歳群：全体の APC は男子 11.9%、女子 11.6%であった。男女ともにベリーストロング量が最も多く、ストロング APC は男子 13.9%、女子 13.8%、ベリーストロング APC は男子 10.1%、女子 9.6%、ストロングゲスト APC は男子 16.3%、女子 15.5%であった。
- ・ 15～19 歳群：全体の APC は男子 10.7%、女子 9.4%であった。男女ともにベリーストロング量が最も多く、ストロング APC は男子 9.2%、女子 9.1%、ベリーストロング APC は男子 10.9%、女子 9.2%、ストロングゲスト APC は男子 18.4%、女子 15.7%であった。

これらのステロイド処方単位量は NDBOD 外用剤の薬効分類名称「鎮痛、鎮痒、収斂、消炎剤」の上位 100 銘柄にあるストロングランク以上のステロイドを集計したものであるが、調査方法の注意点に示したように、第 9 回（2022 年度）、第 10 回（2023 年度）は上位 500 銘柄まで集計している。今回集計したステロイド処方単位量の顕著な増加

は、品目整理や販売中止の理由による同一成分ステロイドの銘柄集約による増加や、他外用剤の 100 位圏外への降級によるステロイド銘柄の相対的な順位昇級の可能性も考えられたため、NDB 第 2～8 回の上記薬効分類内での外来院外処方ストロングランク以上のステロイドの最小銘柄数が 13 であったことから、総処方単位量から院内、院外それぞれ上位 13 銘柄までに固定して処方単位量と APC を分析した（表 3）。若干の変動はあったものの銘柄数は年次的に増加傾向にあり、上位 13 銘柄に固定した場合でも各ランクのステロイド処方単位量は増加しており全体の APC は 8.6%を示した。13 銘柄の処方単位量を年齢階級別に分析した結果、特徴的な点としては 0～4 歳群でベリーストロング、ストロングゲストに大きな変化が認められなかった（ベリーストロング、ストロングゲストともに APC：男子 0.5%、女子 0.6%、図表なし）。

#### (4) 新規薬理作用医薬品

##### ① 新規薬理作用外用剤

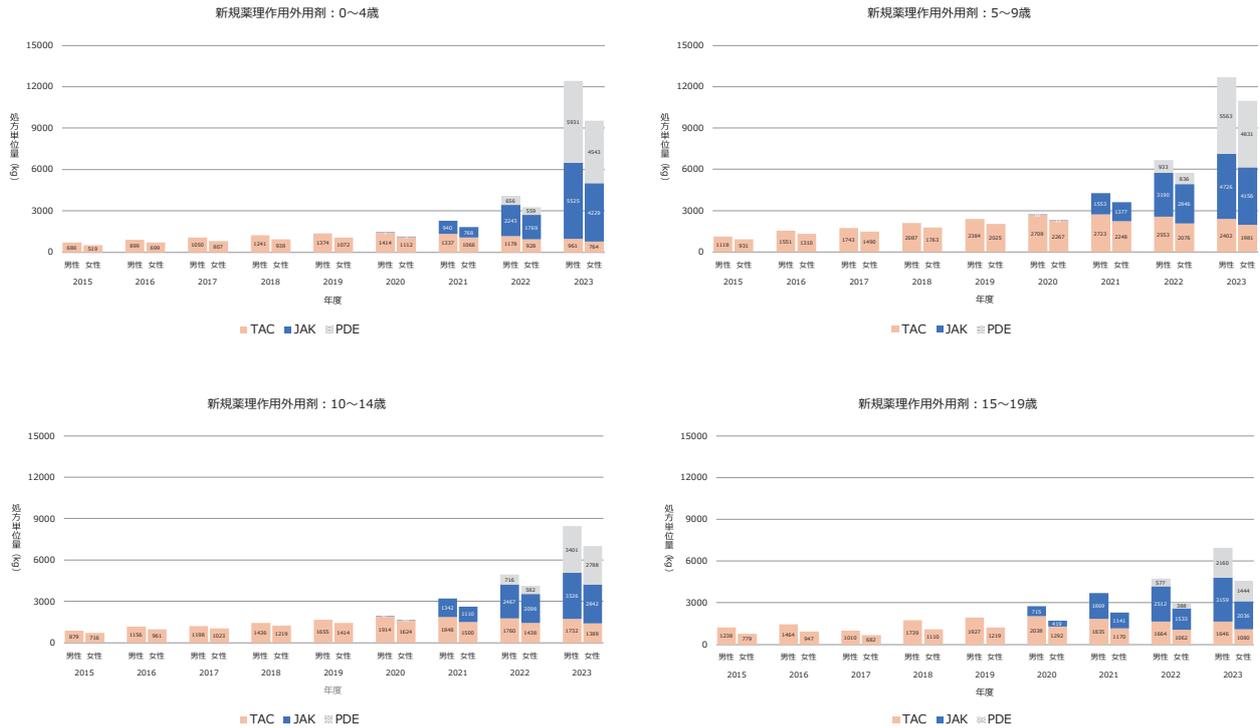
図 4 にアトピー性皮膚炎に適応を持つそれぞれ異なる新規薬理作用外用剤“tacrolimus (TAC)”、“delgocitinib (JAK)”、“difamilast (PDE)”の処方単位量推移を示す。delgocitinib、difamilast ともに上市以降、明確な増加が認められ、特に低年齢群での増加が顕著であった。tacrolimus は増加傾向であったが他 2 剤の上市以降は停滞していた。

表 3 ステロイド外用剤 処方単位量の推移（銘柄数による分析）

	年度	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	APC (%)
100位以内銘柄	銘柄数	13	13	14	13	14	16	17	20	19	
処方単位量	S 以上計	85,946,891	88,833,850	98,468,851	106,875,172	118,517,211	133,919,013	153,860,642	164,544,216	177,780,503	10.3
	S	39,801,971	44,920,176	53,686,211	57,896,749	64,218,700	70,217,860	82,213,607	89,108,159	96,608,159	11.7
	VS	43,540,331	42,294,677	42,562,153	46,818,411	51,747,110	58,699,310	66,783,873	70,655,485	75,976,130	8.5
	SST	2,604,589	1,618,997	2,220,486	2,160,012	2,551,401	5,001,842	4,863,161	4,780,572	5,196,214	15.1
上位13銘柄	銘柄数	13	13	13	13	13	13	13	13	13	
処方単位量	S 以上計	85,946,891	88,833,850	95,254,057	106,875,172	117,324,858	126,261,975	144,435,727	146,517,955	157,860,748	8.6
	S	39,801,971	44,920,176	50,471,418	57,896,749	64,218,700	66,139,447	78,085,935	79,143,987	85,706,739	10.1
	VS	43,540,331	42,294,677	42,562,153	46,818,411	50,554,758	56,222,801	62,735,551	63,804,465	68,351,208	6.9
	SST	2,604,589	1,618,997	2,220,486	2,160,012	2,551,401	3,899,727	3,614,241	3,569,503	3,802,801	9.5

S：strong, VS：very strong, SST：strongest  
引用 2) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図4 新規薬理作用外用剤 処方単位量の推移



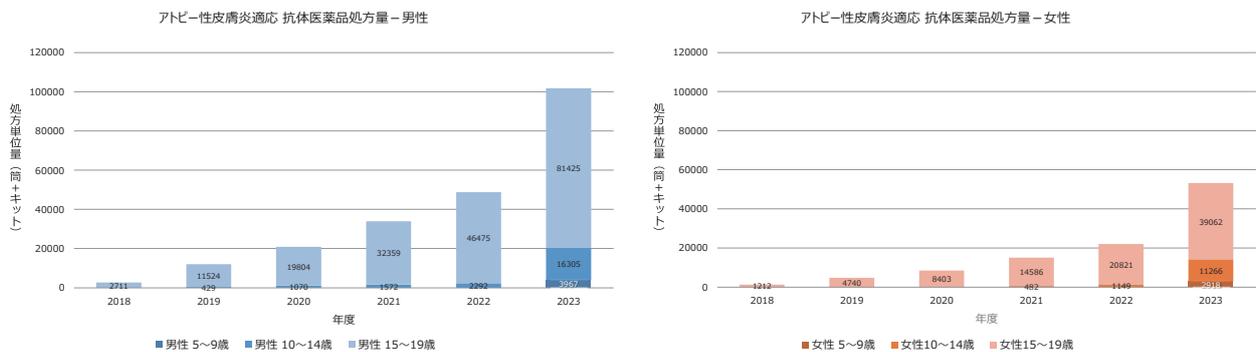
TAC : tacrolimus, JAK : delgocitinib, PDE : difamilast (引用2) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

② 抗体医薬品

図5にアトピー性皮膚炎に適応を有する抗体医薬品 “dupilumab”、“nemolizumab”、“tralokinumab” の3剤計の処方単位量の推移を男女別に示す。男女とも15~19歳群の処方が大半を占め、経年的に顕著な増加が認められた。先述の調査方法に示す通り、dupilumabは、2019年3月に12歳以上の気管支喘息への承認を取得しており、2023年9月に生後6ヶ月以上のアトピー性皮膚炎には承認を取得している。したがって2018年度以降の10

歳以上の群と2023年度の5歳以上の群の処方単位量は主に両疾患の合計と推測される。nemolizumabは13歳以上の「アトピー性皮膚炎に伴う掻痒」のみに適応を有し、tralokinumabは成人（15歳以上）の「既存治療で効果不十分なアトピー性皮膚炎」のみの適応である。2023年度の処方単位量は男女とも2022年度から倍増しており、処方単位量の男女比は10~14歳群が約3：2、15~19歳群では約2：1であった。

図5 アトピー性皮膚炎適応抗体医薬品 処方単位量の推移



引用2) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

### ③ 内服 JAK 阻害薬

表4にアトピー性皮膚炎に適応を有する内服 JAK阻害薬“baricitinib”、“upadacitinib”、“abrocitinib”3剤計の2022～2023年度の処方単位量を示す。調査方法に示す通り、baricitinibの2歳以上のアトピー性皮膚炎への適応拡大は2024年3月であるため、集計期間における3剤のアトピー性皮膚炎の処方は12歳以上(upadacitinib、abrocitinib)もしくは15歳以上(baricitinib)がほとんどを占めていることが推察された。処方単位量の男女比は約3：2であった。

表4 アトピー性皮膚炎適応内服JAK阻害薬 処方単位量(錠)

	年度	2022	2023
男性	5～9歳	0	1,613
	10～14歳	196,287	320,132
	15～19歳	222,480	482,356
女性	5～9歳	0	0
	10～14歳	117,165	223,309
	15～19歳	131,521	303,938

引用2)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

## 4. まとめと考察

### (1) アトピー性皮膚炎被患率

「学校保健統計調査」から、2015～2024年度の10年間のアトピー性皮膚炎の被患率を学校種別、男女別に分析した。幼稚園児の被患率は男女とも年平均5%以上の減少率を示し大幅な減少がみられた。小学生の被患率はマイナス傾向ではあったものの大きな変化は認められず、中学生女子、高校生男子、高校生女子は年平均2%の増加率であった。

診療ガイドライン<sup>3)</sup>では、1992～2002年の皮膚科医の健診による国内アトピー性皮膚炎有症率調査14論文の解析から、年齢別有症率は乳児6～

32%、幼児5～27%、学童5～15%、大学生5～9%と幅があり、年齢が上がるに従い有症率は減少傾向にあったとしている<sup>5)</sup>。また2000～2002年度の厚生労働科学研究では、保健所と小学校健診での専門医による大規模調査で得られた有症率は4か月児12.8%、1歳6ヶ月児9.8%、3歳児13.2%、小学6年生10.6%、大学生8.2%とされ<sup>6)</sup>、従来は高いとされてきた都市部患者の有症率は、当調査においては郊外部と有意差はなかったとしている<sup>7)</sup>。年次変化については、西日本の小学生児童を対象としたアレルギー疾患調査から得られたアトピー性皮膚炎の有症率は、1992年の17.3%から2002年には13.8%と低下していた<sup>8)</sup>。対して京都での7～15歳対象の調査では、1996年4.2%から2006年5.6%に有症率は若干増加していたとあった<sup>9)</sup>。このようにガイドラインに記載されている有症率データは20年以上前の調査であり、報告毎に数値に幅があることが示されている。

今回、学校保健統計調査で示された幼児、児童及び生徒のアトピー性皮膚炎被患率とその推移が専門医からみて医学的もしくは医療疫学としての価値を有するかは議論があるところである。特に専門医による標準的な診断結果で構成された調査ではない点が指摘される。しかし、各都道府県は当調査を用いて自治体児童の健康状態、被患率を把握し、当調査を基礎資料として幼児、児童、生徒の健康向上に向けた政策、学校保健行政に繋げており、参考として児童達の被患率の傾向をみることは可能と考えられた。

### (2) アトピー性皮膚炎検査

本稿で示された被患率の推移は、NDBODを用いたアトピー性皮膚炎特異的検査である

- 5) 森田栄伸「アトピー性皮膚炎患者数の実態、原因・悪化因子に関する資料の解析・整理」、平成13年度厚生科学研究費補助金免疫・アレルギー等研究事業研究報告書 第2分冊：184-186 (2002)
- 6) 山本昇壯「アトピー性皮膚炎の患者数の実態及び発症・悪化に及ぼす環境因子の調査に関する研究」、平成14年度厚生労働科学研究費補助金 免疫アレルギー疾患予防・治療研究事業研究報告書 第1分冊：71-77 (2003)
- 7) Saeki H, et al, Prevalence of atopic dermatitis in Japanese elementary schoolchildren, Br. J. Dermatol. 152 : 110-114 (2005)
- 8) 太田國隆ほか：西日本小学児童におけるアレルギー疾患有症率調査1992年と2002年の比較、日本小児アレルギー学会誌 17 : 255-268 (2003)
- 9) Kusunoki T, et al, Changing prevalence and severity of childhood allergic diseases in kyoto, Japan, from 1996 to 2006, Allergol. Int.,58 : 543-548 (2009)

“TARC”、“SCCA2”の算定回数の推移との関係を示唆している。0～4歳群の検査算定回数の年平均変化率は男子▲3.5%、女子▲2.1%とマイナスであったが、5～9歳群では男女5%、10～14歳群では男女11%、15～19歳群では男子12%、女子10%と増加していた。巻末の別表2に示すように、日本の小児人口はどの年齢群も年次で減少しており少子化が進んでいる。検査の算定回数もそれにしたがって減少することが予想されるがそうはならず、男女ともに5歳以上の群はアトピー性皮膚炎特異的検査の算定回数は増加していた。特に高年齢群の算定回数が年10%以上増加していたことは、被患率が年2%近く増加していたことと因果関係があるかもしれない。COVID-19パンデミックにより2020年は小児科外来の受診数が激減し、専門施設に多い管理料1算定施設以外は2021、22年も十分に回復していない<sup>10)</sup>とあり、0～4歳群の算定回数の減少は受診減の影響があった可能性も考えられる。しかし当年齢群の算定回数の減少は2018年から始まっており、また他の年齢群の算定回数の増加に対しては説明できないため更なる分析が必要と考える。

### (3) ステロイド外用剤

NDBODを用いてストロングランク以上のステロイド外用剤の処方単位の推移を分析した結果いずれの年齢群でも大きく増加していた。抗体医薬品やJAK阻害薬等、近年のgame changerとされる新規薬理作用を有する医薬品の上市によって、ステロイドの使用量は減少、もしくはステロイド強度を下げて使用するケースが増えているという仮説を持って集計、分析したが想定外の結果であり、低年齢群ではストロング、高年齢群ではベリーストロングが優位のまま増加しており、特に高年齢群でのストロングゲストの増加率の大きさが注目された。この顕著な増加の理由をアトピー性皮膚炎被患率の増加だけで説明することは不可

能である。若年者でステロイド外用剤が適応となる皮膚疾患が急増しているということも考えられない。当初、発売中止や出荷調整によって複数のステロイド銘柄が集約され、NDBOD「鎮痛、鎮痒、収斂、消炎剤」の上位100にランクインする銘柄数、もしくは銘柄当たりの処方単位数が増加したと考え、上位13銘柄に固定した処方単位の年変化率を算出したが、この分析でも同様に大きな増加が認められた。

利用ルールにより詳細の記載はしないが、検証的にIQVIA JPMデータを用いて3つのステロイドランクから代表的な2成分の最頻規格を選び、年売上から算出した6成分の数量について2015～2023年の年平均変化率を算出した<sup>11)</sup>。その結果、6成分計では年3.5%、ストロングは年5.6%、ベリーストロングは年3.7%、ストロングゲストは年0.9%で増加していた。年齢の考慮もなくあくまで簡易的な分析ではあるが、異なるデータベースを用いてもステロイド外用剤の使用量は近年増加傾向にあることが示された。ステロイド外用剤の増加はアトピー性皮膚炎患者数の変化だけで示すことはできず、医師をはじめとする医療者の方々が診療ガイドラインに示す基本的なステロイド治療を周知努力されていることに加え、ステロイド治療に対する患者の理解向上、新規薬理作用医薬品の上市を契機とした疾患啓発の普及、コロナによる受診機会減を契機とした1回処方当たりの処方量増加等の処方形態の変化、販売中止等による銘柄集約や出荷調整等、複数の要因によるものと想像された。特に幼稚園児の被患率が低下し、小学生の被患率には大きな変化が無かったにも関わらず、低年齢群においてステロイド外用剤の増加が示された点について、症状寛解後に維持療法としてステロイド外用剤やその他のアトピー性皮膚炎治療外用剤を間歇的に投与し症状の安定化を図る「プロアクティブ療法」<sup>3)</sup>が低年齢群で浸透し、学校保健統計調査では症状がマスクされた患者が被患者ス

10) 田中文字子他 日本小児科学会小児医療提供体制委員会報告「COVID-19流行前後における小児医療の変化に関する調査」、日本小児科学会雑誌128(12):1576-1584(2024)

11) Copyright©2026 IQVIA. IQVIA JPM, Data Period 2015-2023年度をもとに医薬産業政策研究所にて集計・分析(無断転載禁止)

クリーニングから免れた可能性も考えられる。情報量が十分な多様なリアルワールドデータが存在するなか、速やかに医療技術評価の精度向上を実現するためにも NDB をはじめとする健康医療データが連結され、疾患と治療薬、治療技術との関連を示す精緻な疫学研究に繋がるデータ活用技術の発展に期待したい。

#### (4) 新規薬理作用医薬品

この数年でアトピー性皮膚炎治療は劇的な変化を遂げた。とはいえ game changer と期待される新たな治療薬が市場に出るまでかなりの時間を要した。診療ガイドラインによると60年以上ステロイド外用剤はアトピー性皮膚炎の治療に用いられており、現在においてもステロイド外用剤は治療戦略の基本である<sup>3)</sup>。1993年に臓器移植における拒絶反応の抑制剤として上市されたカルシニューリン阻害薬 tacrolimus 内服剤が各種自己免疫性疾患に適応を拡大し、1999年にアトピー性皮膚炎に適応とした tacrolimus 外用剤が上市された。tacrolimus はステロイド外用剤ではコントロールが困難な病勢を抑える効果を示し、特に顔面・頸部

の難治病変に対する大きな武器となった。ステロイドと免疫抑制機序が全く異なるため両剤を使い分けることでステロイド量を減らすことができるケースも増えた。一方、効果の限界、長期連用による有害事象、血中濃度の上昇リスクがあるためびらん、潰瘍面には使用できない等の制約<sup>3)</sup>もありアトピー性皮膚炎患者のアンメットニーズを更に満たす新たな治療薬開発が求められてきた。tacrolimus の前から腎移植の拒絶反応抑制に使われていたカルシニューリン阻害薬 cyclosporine 内服剤が2008年に既存治療不応のアトピー性皮膚炎に適応拡大されたものの、tacrolimus 外用剤の上市から新たな作用機序を有する治療薬に患者がアクセスできるようになるまで約20年を要した。

新規薬理作用医薬品の標的分子と承認年齢の変遷を表5に示す。2018年、既存治療不応のアトピー性皮膚炎に対して最初の抗体医薬品が承認され、2020年、外用剤として最初の JAK 阻害薬がアトピー性皮膚炎に承認、2020～2021年に内服 JAK 阻害薬 3 剤が既存治療不応例に承認された。2022年に外用 PDE 4 阻害剤が承認、2023～2024年には新たな抗体医薬品 3 剤が既存治療不応例に承認され

表5 小児アトピー性皮膚炎治療薬の多様化

	ステロイド外用剤	新規薬理作用外用剤	標的分子	抗体医薬品	標的分子	内服 JAK 阻害薬	標的分子	その他	標的分子
1960年代									
1999		tacrolimus (≥16ys)	calcineurin						
2003		tacrolimus (≥2ys)	calcineurin						
2008								cyclosporine (≥16ys)	calcineurin
2018					dupilumab (≥15ys)	IL-4Rα			
2020			delgocitinib (≥15ys)	JAK1, 2, 3 TYK2			baricitinib (≥15ys)	JAK1, 2	
2021			delgocitinib (≥2ys)	JAK1, 2, 3 TYK2			upadacitinib (≥12ys) abrocitinib (≥12ys)	JAK1	
2022			difamilast (≥2ys)	PDE4	nemolizumab (≥13ys)	IL-31R			
2023			delgocitinib (≥6ms) difamilast (≥3ms)	JAK1, 2, 3 TYK2 PDE4	dupilumab (≥6ms) tralokinumab (≥15ys)	IL-4Rα IL-13			
2024			tapinarof (≥12ys)	AhR	lebrikizumab (≥12ys) nemolizumab (≥6ys)	IL-13 IL-31R	baricitinib (≥2ys)	JAK1, 2	

\* ys : years, ms : months, JAK : janus kinase, PDE : phosphodiesterase, AhR : aryl hydrocarbon receptor, IL : interleukin, R : receptor  
各製品の添付文書、インタビューフォーム、「明日の新薬 (テクノミック制作)」等をもとに医薬産業政策研究所にて作成

た。これら新薬の多くは「最適使用推進ガイドライン」<sup>12)</sup>で専門施設、専門医による使用に厳格に規制されているが、新薬の処方量は先に示したように著しく増加している。新規薬理作用は主な病因となる Th2 型炎症反応を惹起するインターロイキン (IL) による JAK-STAT 系シグナル伝達経路を特異的に抑制するものであるが、作用する分子に応じて発現される臨床効果(主に掻痒を改善、バリア機能改善等)にそれぞれ特徴が報告されており<sup>3)</sup>、アトピー性皮膚炎患者の方々が共通に悩む掻痒や睡眠障害といった QOL の改善はもちろん、特異的な薬理作用によりそれぞれの患者が抱えるアンメットニーズを満たす「個別化医療」の実現により一層近づいていると思われる。同時に新たな薬理作用を有する薬剤は重篤感染症等、有害事象も特徴的で臨床医は情報の蓄積も少ないため、リスク最小化に向けた有害事象マネジメントが極めて重要であり、企業の適正使用推進活動の重要性は更に高まる。

## 5. おわりに

小児アトピー性皮膚炎患者の方々の悩みは症状だけではなく、日常の様々なストレスが負荷となり症状の変化に強く影響するとされる。保護者の方々にも食事や環境への対応、医療費の負担等に特別な配慮が求められる。極度の少子高齢化を迎える日本社会にとって小児医療の重要性と価値はますます高まる。新たな治療薬が患者と保護者の方々が抱えるアンメットニーズを高いレベルで充足することができ、QOL改善、well beingの実現が可能となるよう、研究開発型製薬企業は使命として持続的なイノベーションに更に取り組む必要がある。創薬コンセプトの設計図となる target product profile (TPP) の確度を高めるためにも患者と保護者の方々の積極的な開発への参画は重要な要素となる。革新的新薬を継続的に創出するために、また創出された新薬の価値が正確に評価されるためにも患者、保護者、介護者からのアウトカム報告が診療、開発、日常生活の場で収集され評価される環境づくりがこれからの日本の医療政策において本質的な要素になると考える。

---

12) PMDA ホームページ「最適使用推進ガイドライン (医薬品)」(2025.12.25最終確認)  
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0028.html>

別表1 学校保健統計調査 調査対象数

	学校種	調査年度									
		2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
調査校数	幼稚園	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645	1,645
	小学校	2,820	2,820	2,820	2,820	2,820	2,820	2,820	2,820	2,820	
	中学校	1,880	1,880	1,880	1,880	1,880	1,880	1,880	1,880	1,880	
	高校	1,410	1,410	1,410	1,410	1,410	1,410	1,410	1,410	1,410	
	計	7,755	7,755	7,755	7,755	7,755	7,755	7,755	7,755	7,755	
発育状態調査(人)	幼稚園	72,380	72,380	72,380	72,380	72,380	72,380	72,380	72,380	72,380	52,834
	小学校	270,720	270,720	270,720	270,720	270,720	270,720	270,720	270,720	270,720	261,422
	中学校	225,600	225,600	225,600	225,600	225,600	225,600	225,600	225,600	225,600	213,026
	高校	126,900	126,900	126,900	126,900	126,900	126,900	126,900	126,900	126,900	121,860
	計	695,600	695,600	695,600	695,600	695,600	695,600	695,600	695,600	695,600	649,142
健康状態調査(人)	幼稚園	92,519	99,842	94,771	95,936	89,203	88,109	86,871	76,219	73,138	69,045
	小学校	1,323,537	1,350,596	1,351,418	1,370,780	1,357,918	1,352,008	1,345,282	1,303,498	1,295,987	1,279,176
	中学校	850,518	873,897	847,283	848,164	840,203	842,632	844,614	816,660	814,523	814,195
	高校	1,084,473	1,112,727	1,112,029	1,108,891	1,084,658	1,058,172	1,059,424	1,024,034	1,025,544	1,028,355
	計	3,351,047	3,437,062	3,405,501	3,423,771	3,371,982	3,340,921	3,336,191	3,220,411	3,209,192	3,190,771

引用1)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

別表2 性別年齢階級別小児人口推計

性別年齢階級	年度										APC(%)
	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	
男性0～4歳	2,528,080	2,504,389	2,475,347	2,439,327	2,396,769	2,281,730	2,202,923	2,130,887	2,048,635	1,952,641	-2.9
女性0～4歳	2,414,909	2,389,919	2,360,832	2,323,187	2,281,765	2,176,522	2,103,782	2,032,375	1,952,641	1,874,634	-2.9
男性5～9歳	2,698,523	2,689,161	2,659,147	2,621,279	2,575,221	2,580,146	2,539,951	2,492,060	2,434,065	2,317,686	-1.5
女性5～9歳	2,569,226	2,558,940	2,532,281	2,498,746	2,455,567	2,457,314	2,418,860	2,373,351	2,317,686	2,254,619	-1.4
男性10～14歳	2,855,328	2,798,896	2,755,513	2,732,573	2,711,090	2,724,077	2,713,867	2,684,286	2,649,795	2,523,547	-1.0
女性10～14歳	2,718,493	2,667,435	2,626,724	2,605,802	2,582,651	2,590,700	2,580,057	2,554,619	2,523,547	2,488,919	-0.8
男性15～19歳	3,073,597	3,058,390	3,030,148	2,979,988	2,927,427	2,883,030	2,826,550	2,781,421	2,757,436	2,618,695	-1.7
女性15～19歳	2,904,186	2,892,993	2,867,362	2,823,068	2,779,131	2,735,918	2,680,776	2,637,067	2,618,695	2,594,486	-1.4

出所：人口動態統計（厚生労働省大臣官房統計情報部）

出典：新基準人口 全国がん死亡データ（1979年～2024年）、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）より全国年齢階級別（95歳以上丸め）日本人人口、性、暦年別（pop）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

## アンメット・メディカル・ニーズに対する 医薬品の承認状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治

### 要約

- 公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団の医療ニーズ調査を引き継いだ通算第7回目となる2024年度調査の結果と、直近5年(2020~2024年)に日本で承認された新医薬品に関するデータを用いて、アンメット・メディカル・ニーズに関連する新医薬品の承認動向を分析した。
- 当該期間に60疾患を対象として承認された新医薬品は237品目に達し、そのうちNMEは約4割(41.7%)を占めていた。承認は治療満足度・薬剤貢献度ともに高い第1象限の疾患領域、とりわけ悪性腫瘍性疾患に集中していた。
- モダリティ別にみると、低分子薬が引き続き中心である一方、抗体医薬、ADC、多重特異性抗体など新規モダリティの導入が進展し、とくに悪性腫瘍領域ではモダリティの多様化が顕著であった。
- 2014年度、2019年度、2024年度の調査結果を比較したところ、アトピー性皮膚炎、乾癬、SLE、悪性リンパ腫の4疾患では、治療満足度・薬剤貢献度の双方が大きく改善しており、新規モダリティや新規作用機序をもつ医薬品の導入が背景にあると考えられた。
- 今後、承認状況に加えて開発段階の情報も含めた分析を継続することにより、アンメット・メ

ディカル・ニーズと医薬品承認・開発動向との関係をより多面的に検討することが必要である。

### 1. はじめに

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

HS財団は第6回となる2019年度調査を最後に2021年3月末に解散したが、この医療ニーズに関する調査は5年を経て明治薬科大学社会薬学研究室によって同財団の調査形式が引き継がれた。通算第7回目となる2024年度調査<sup>3)</sup>は、主に病院勤務の総合内科専門医を対象として、2024年12月12日~2025年1月31日の間にアンケート調査が実施された。

本調査における「治療満足度」は、各疾患について「十分に満足している」および「ある程度満足している」と回答した医師の割合を合算した指標であり、「薬剤貢献度」についても同様に、「十分に貢献している」および「ある程度貢献している」と回答した割合を合算して算出されている。したがってこれらの指標が高い値を示している場合であっても、当該疾患に対する治療や治療薬に

1) 公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団「2019年度 国内基盤技術調査報告書-60疾患に関する医療ニーズ調査(第6回)-」等。 <https://soc-pharm.lab.my-pharm.ac.jp/page/achievements> (参照日: 2026年2月6日)。  
2) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況」政策研ニュース No.31 (2010年10月)、No.34 (2011年11月)、No.38 (2013年3月)、No.52 (2017年11月)、No.59 (2020年3月)、No.61 (2020年11月)、No.66 (2022年7月)、No.69 (2023年7月)、No.70 (2023年11月)。  
3) 廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査(2024年度調査の結果について)」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57 (1): 70-84 (2026)

ついて、十分な満足や貢献が確立されているわけではない点に留意が必要である。

調査対象の60疾患は調査班で議論して重要と考える疾患であり、具体的には重篤な疾患、QOLを著しく損なう疾患、患者数の多い疾患、社会的に影響の大きい疾患等である。本稿では、直近の治療満足度調査結果（2024年度）に基づいて、これら60疾患に対して2020～2024年の間に日本で承認された新医薬品の状況を整理するとともに、new molecular entity（NME：新規化合物）を対象としたモダリティ別の構成や領域別の特徴を明らかにすることを目的とする。

また、2014年度、2019年度の調査結果との比較により、治療満足度および薬剤貢献度に大きく差が認められた疾患を抽出し、新医薬品の承認数と新規モダリティ、新規薬理作用等のイノベーションによる影響が推察されるか考察した。

## 2. 調査方法

医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス「第57巻 第1号」に掲載された「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」の結果に基づいて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）ホームページ「承認品目」から、2020年から2024年に60疾患に対して承認された新医薬品等を集計した。なおPMDAでは年度毎に承認品目毎に公表しているが、これまでの政策研による研究報告では暦年で集計していたため慣習に則った。これら新医薬品等のモダリティ調査については、市販データベース「明日の新薬」（テクノミック作成）、各医薬品の審査報告書等を参考とした。

なお、本稿において、new molecular entity（NME：新規化合物）とは、新医薬品のうち、「新有効成分含有医薬品（配合剤を含む）」および「新規に承認された再生医療等製品（条件及び期限付き承認を含む）」を指すものとして定義した。

## 3. 結果

### (1) 治療満足度・薬剤貢献度別にみた新医薬品の承認品目数

図1は2024年に報告された第7回調査で、「重篤な疾患」、「QOLを著しく損なう疾患」、「患者数の多い疾患」、「社会的に影響の多い疾患」等として選択された60疾患に対する治療満足度（横軸）、薬剤貢献度（縦軸）に沿って疾患をプロットし、直近5年（2020～2024年）に日本で承認された新医薬品のうち、60疾患への適応を持つ新薬の承認件数を円の大きさおよび数値で示したものである。

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

当該期間での総承認件数は610品目であり、第7回調査の60疾患に関する承認は237品目（1承認に複数の適応疾患がある品目を含む）、222製品であった。このうちnew molecular entity（NME：新規化合物）は99品目（90製品）であり、その割合は41.7%（99/237）であった。

60疾患を象限別に見ると、治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以上である「第1象限」疾患は40疾患（66.7%）と最も多く、10の悪性腫瘍性疾患のうち9疾患が含まれていた。

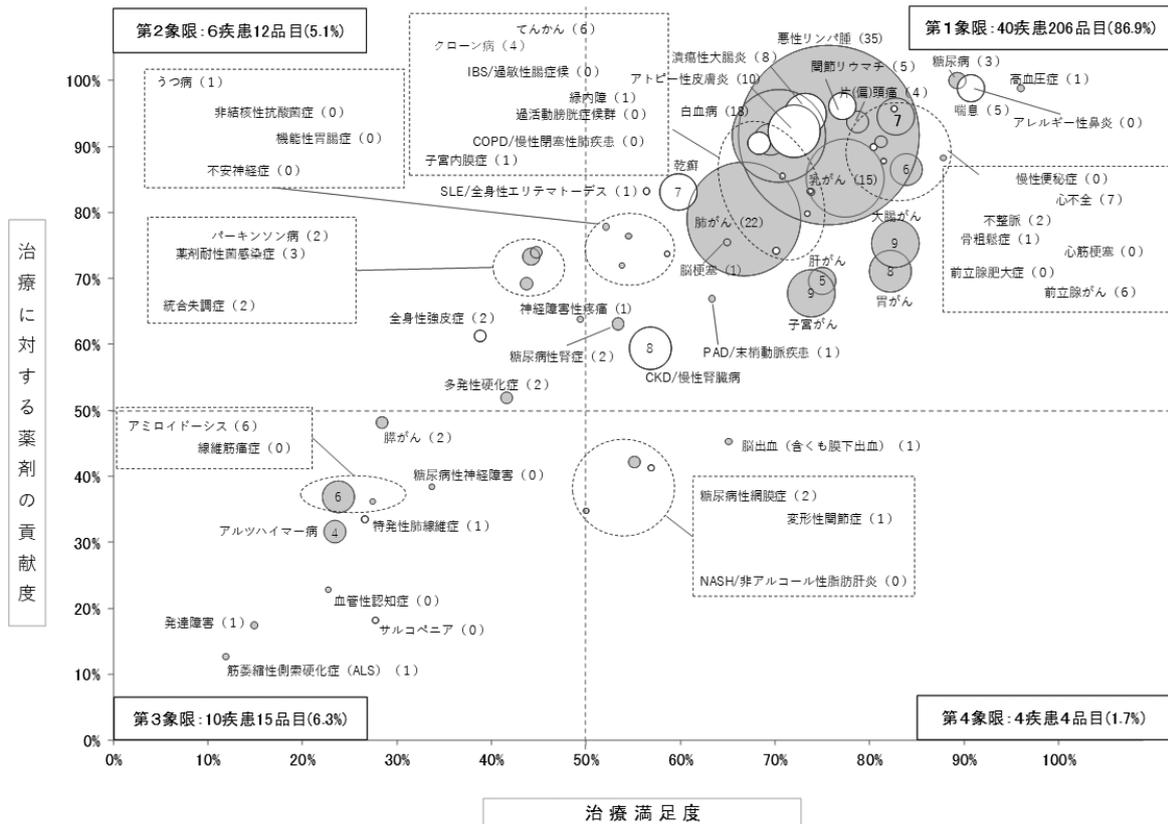
2020年～2024年における60疾患に関連する承認品目を象限別に見ると、第1象限に含まれる疾患に対する新医薬品の承認品目の割合は86.9%（206/237）であり、治療満足度、薬剤貢献度ともに高い疾患領域に更に新規承認が集中していた。

第1象限は悪性腫瘍性疾患に対して承認された品目が多く、効能別にみると「悪性リンパ腫」35品目、「肺がん」22品目、「白血病」18品目、「乳がん」15品目、「大腸がん」9品目、「子宮がん」9品目、「胃がん」8品目、「前立腺がん」6品目、「肝がん（肝細胞がん）」5品目と、第1象限疾患に対する承認品目数の6割を占めていた（61.7%、127/206）。

2024年単年でみると、10の悪性腫瘍性疾患に対する治療薬は新たに31品目が追加されていた。

第2、3、4象限の承認品目数については、そ

図1 治療満足度・薬剤貢献度（2024年）別にみた新薬承認件数（2020-2024年）



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

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

出所：廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）

PMDA 令和元年度～6年度承認品目一覧（新医薬品、新再生医療等製品）、「明日の新薬（テクノミック作成）」、審査報告書、医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.66（2022年7月）、No.69（2023年7月）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

それぞれ12品目（5.1%）、15品目（6.3%）、4品目（1.7%）であった。

(2) 60疾患に対する承認品目のモダリティ分析

本節章では、2020～2024年において60疾患を対象に承認された医薬品およびその中のNMEについて、モダリティ別の承認動向を整理し、近年の医薬品開発の特徴を概観する。

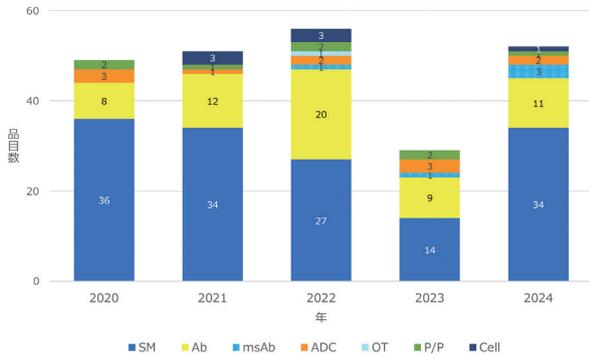
まず、60疾患に対する承認品目全体のモダリティ別承認数の推移を図2-1に示す。低分子薬(small molecule drug; SM)は全期間を通じて50～70%を占め、引き続き中心的な役割を果たしていた。一方、抗体医薬(antibody drug; Ab)の承認数割合は20～30%で推移し、2023年には抗体薬物複

合体(antibody-drug conjugate; ADC)、2024年には多重特異性抗体(multispecific antibody drug; msAb)の承認数が増加するなど、抗体医薬の多様化が進んでいた。また、核酸医薬(oligonucleotide therapeutics; OT)は期間中1件の承認にとどまっていた。

次に、60疾患に対するNMEのモダリティ別承認数の推移を図2-2に示す。NMEの低分子薬は2023年を除き毎年一定の承認数を維持していたものの、その割合は2023年までは漸減傾向にあったが、2024年には復調していた。抗体医薬NMEの承認数割合は全体として増加傾向が示されたが、2024年にはその派生である多重特異性抗体、ADCの承認数が増え、抗体医薬領域におけるモダリテ

図2-1 60疾患に対する承認品目のモダリティ別承認数の推移（品目数、割合）

60疾患に対する承認品目：モダリティ別承認数  
(n=237)



60疾患に対する承認品目：モダリティ別承認数割合

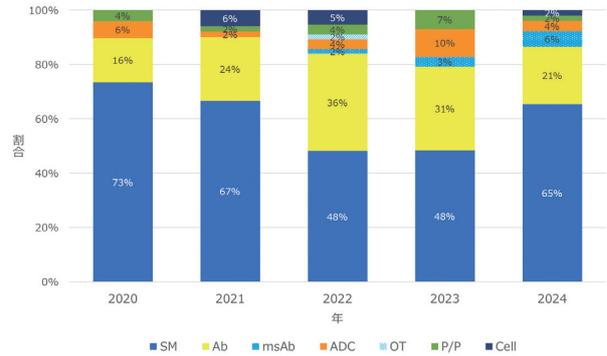
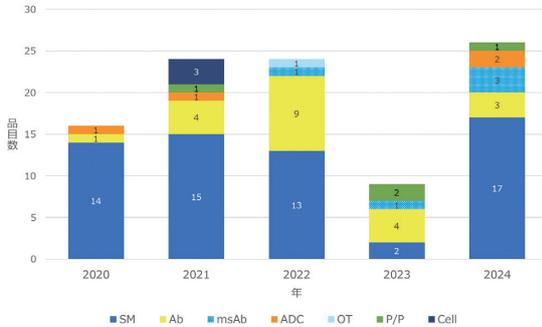


図2-2 60疾患に対する NME のモダリティ別承認数の推移（品目数、割合）

60疾患に対する NME：モダリティ別承認数  
(n=99)



60疾患に対する NME：モダリティ別承認数割合

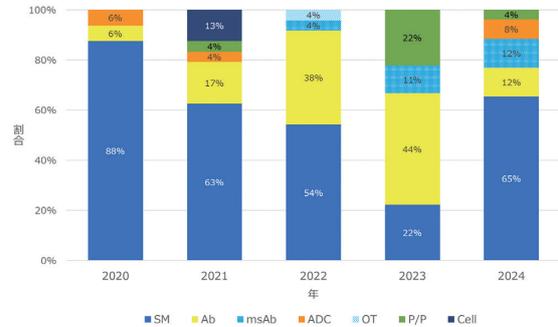
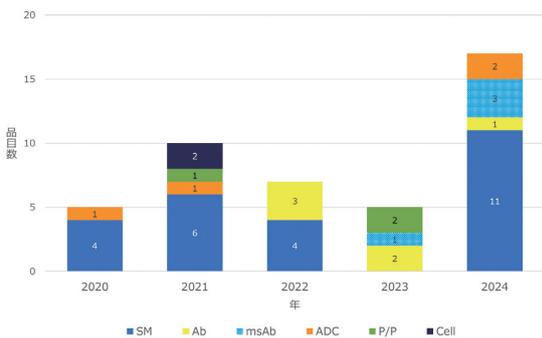
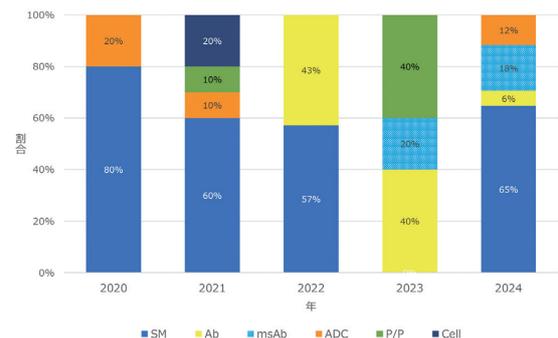


図2-3 悪性腫瘍性疾患に対する NME のモダリティ別承認数の推移（品目数、割合）

悪性腫瘍性疾患に対する NME：モダリティ別承認数  
(n=44)



悪性腫瘍性疾患に対する NME：モダリティ別承認数割合



イの多様化が進展していることがうかがえた。核酸医薬の承認数は1件にとどまっていた。

領域別に見ると、悪性腫瘍性疾患に対するNME（図2-3）では、2024年に低分子薬、多重特異性抗体、ADCの承認数の増加が特徴的であった。

一方、悪性腫瘍以外の疾患に対するNME

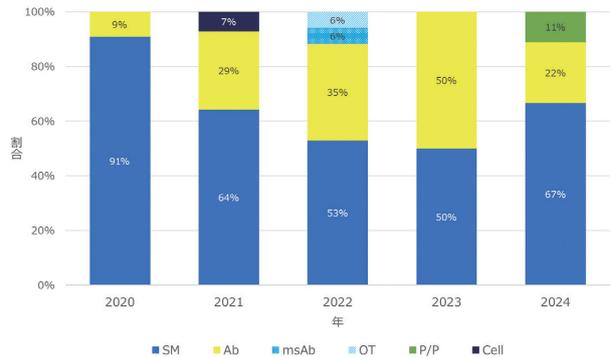
（図2-4）では、低分子薬と抗体医薬が大半を占めており、悪性腫瘍領域に比べるとモダリティの多様化は限定的であった。承認数は2022年までは増加傾向にあったが、2023年以降は減少がみられた。

図2-4 悪性腫瘍以外の疾患に対する NME のモダリティ別承認数の推移（品目数、割合）

悪性腫瘍以外の疾患に対する NME：モダリティ別承認数（n=55）



悪性腫瘍性疾患に対する NME：モダリティ別承認数割合



SM：small molecule drug；低分子薬、Ab：antibody drug；抗体医薬、msAb：multispecific antibody drug；多重特異性抗体、ADC：antibody-drug conjugate；抗体薬物複合体、P/P：protein/peptide；タンパク・ペプチド医薬；Cell：細胞医療出所：廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）

PMDA 令和元年度～6年度承認品目一覧（新医薬品、新再生医療等製品）、「明日の新薬（テクノミック作成）」、審査報告書をもとに医薬産業政策研究所にて作成

(3) 薬剤貢献度の向上と治療満足度の変化に関する分析

本節では、2014年度および2019年度の調査結果と比較して、治療満足度および薬剤貢献度が大きく上昇した疾患に着目し、その背景として考えられる新医薬品の承認状況について整理する。なお、2014年度、2019年度、2024年度の各調査でいくつかの対象疾患が変更されている（表1）。そのため3時点の調査データが揃っていない疾患は分析から除外した。

薬剤貢献度の上昇が治療満足度に波及しているのかを分析するため、2024年度調査において50%以上の治療満足度、薬剤貢献度が得られた疾患を対象に、2014年度、2019年度、2024年度の3時点の値から近似曲線を作成し、治療満足度、薬剤貢献度の変化率を算出した。2024年度調査で第一象限にあり、3時点データのある38疾患を対象に分析したところ、線形は正を示したものの治療満足度変化率、薬剤貢献度変化率との間に相関は認められなかった（図3左）。すなわち、治療満足度は薬剤の影響のみではなく、疾患特性や他の治療方法、患者の反応等、複数の要因に影響を受けることを示唆しているかもしれない。なお、本分析は、両指標間の因果関係を直接検証するものではなく、経時的な変化傾向を相対的に把握することで、

表1 医療ニーズ調査における調査対象疾患の変遷

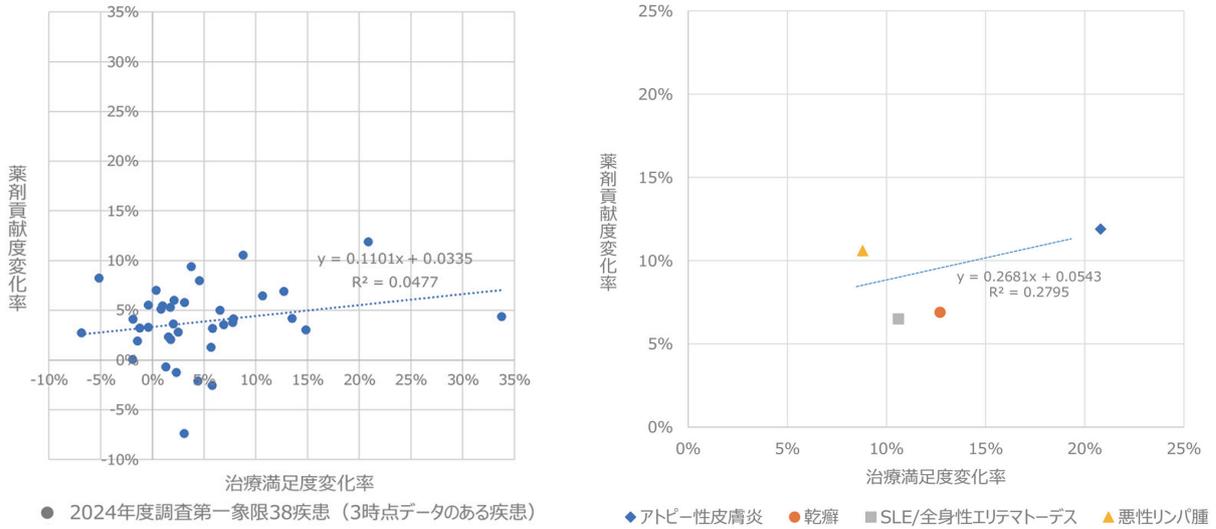
	2014年度⇒2019年度	2019年度⇒2024年度
除外	慢性B型肝炎	むずむず脚症候群
	慢性C型肝炎	腹圧性尿失禁
	HIV・エイズ	
	副鼻腔炎	
	睡眠時無呼吸症候群	
	高尿酸血症・痛風	
新規	非結核性抗酸菌症	アミロイドーシス
	ALS／筋委縮性側索硬化症	発達障害
	特発性肺線維症	
	慢性便秘症	
	全身性強皮症	
変更	IBD／炎症性腸疾患⇒潰瘍性大腸炎	MRSA 感染症⇒薬剤耐性菌感染症
	IBD／炎症性腸疾患⇒クローン病	子宮頸がん⇒子宮がん

出所：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成26年度（2014年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、「令和1年度（2019年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

治療評価の改善が同時に認められた疾患群を抽出することを目的とした探索的分析として位置づけた。

この点を踏まえ、治療満足度および薬剤貢献度の双方が相対的に大きく改善した疾患に着目し、両指標の改善が同時に認められた疾患群を抽出した。近似曲線から得られた変化率から、治療満足

図3 薬剤貢献度変化率と治療満足度変化率との関係



出所：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成26年度（2014年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、「令和1年度（2019年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

度、薬剤貢献度ともに上位10位内に位置した疾患を抽出したところ、①アトピー性皮膚炎（11.9%/20.8%）、②乾癬（6.9%/12.7%）、③SLE/全身性エリテマトーデス（6.5%/10.6%）、④悪性リンパ腫（10.6%/8.8%）が挙げられ（括弧内は薬剤貢献度増加率/治療満足度増加率）、これらは免疫異常もしくは免疫細胞が腫瘍化する皮膚病変が主体もしくは随伴する4疾患であった（表2）。この4疾

患での治療満足度変化率、薬剤貢献度変化率との間にも明らかな相関は認められなかった（図3右）。

4. まとめ・考察

本稿では、明治薬科大学社会薬学研究室による第7回医療ニーズ調査の治療満足度・薬剤貢献度調査結果と、2020～2024年に承認された新医薬品およびNMEの分析結果を組み合わせ、医薬品開

表2 薬剤貢献度と治療満足度の増加率上位の疾患

薬剤貢献度

	調査毎増加率	2014年度	2019年度	2024年度
アトピー性皮膚炎	11.9%	73.7%	80.0%	92.3%
悪性リンパ腫	10.6%	75.0%	92.0%	91.7%
IBS/過敏性腸症候群	9.4%	71.4%	72.3%	85.5%
緑内障	8.3%	70.9%	80.5%	83.1%
てんかん	8.0%	78.1%	88.0%	91.1%
片（偏）頭痛	7.0%	81.8%	90.4%	93.7%
乾癬	6.9%	72.7%	74.2%	83.1%
SLE/全身性エリテマトーデス	6.5%	73.4%	78.0%	83.2%
白血病	6.0%	81.5%	90.7%	91.6%
潰瘍性大腸炎	5.8%	84.8%	88.1%	94.9%

治療満足度

	調査毎増加率	2014年度	2019年度	2024年度
肺がん	33.7%	37.3%	52.4%	66.7%
アトピー性皮膚炎	20.8%	49.3%	65.8%	72.0%
糖尿病性腎症	14.8%	40.5%	52.9%	53.4%
COPD/慢性閉塞性肺疾患	13.5%	57.0%	69.2%	73.4%
NASH/非アルコール性脂肪肝炎	13.4%	38.9%	53.0%	50.0%
乾癬	12.7%	47.1%	60.8%	59.8%
SLE/全身性エリテマトーデス	10.6%	46.1%	64.7%	56.4%
悪性リンパ腫	8.8%	64.0%	63.5%	75.7%
過活動膀胱症候群	7.8%	63.4%	68.5%	73.7%
肝がん	7.7%	64.6%	71.9%	75.0%

出所：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団「平成26年度（2014年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、「令和1年度（2019年度）国内基盤技術調査報告書－60疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ－」、廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

発の近年の動向と治療評価の関係性を検討した。

### (1) 治療満足度・薬剤貢献度別にみた新医薬品の承認品目数

60疾患に対する新医薬品の承認数は直近5年間で237品目に達し、そのうちNMEは約4割を占めていた。第1象限に分類される治療満足度および薬剤貢献度の双方が高い疾患領域に承認が集中し、とりわけ悪性腫瘍性疾患に対する新薬が多数を占めていた。多くの悪性腫瘍性疾患は近年、第1象限に位置づけられるようになってきたものの、依然として世界的に主要な死因の一つであり、アンメット・メディカル・ニーズは高い水準にあることから、医薬品開発がこうした分野に重点を置いて進められている現状を示していた。

### (2) 60疾患に対する承認品目のモダリティ分析

60疾患に対する承認品目全体のモダリティ構成をみると、低分子薬が全期間を通じて中心的な役割を担っており、引き続き医薬品開発の基盤となっていることが確認された。一方で、抗体医薬の存在感は年次を通じて維持されており、近年ではADCや多重特異性抗体など、抗体医薬の派生モダリティの導入が進み、治療手段の選択肢が拡張していることがうかがえる。

特に悪性腫瘍性疾患領域においては、抗体医薬、ADC、多重特異性抗体に加え、細胞医療やタンパク・ペプチド製剤など、多様なモダリティを有する医薬品が継続的に導入され、治療選択肢の拡大と治療技術の高度化が進展していることが示唆された。一方、悪性腫瘍以外の疾患領域では、モダリティの多様化やNME承認数において顕著な変化は認められなかった。とりわけ、薬剤貢献度が50%未満である第3象限および第4象限に分類される疾患では、膀胱がんを除き悪性腫瘍性疾患は含まれておらず、図1に示すとおり、第1象限に分類される疾患群と比較して、承認品目数が相対的に少ない傾向が認められ、疾患特性によって承認動向に差異が生じている可能性が示唆された。

こうした状況を踏まえると、製薬企業においては、薬剤貢献度が相対的に低い第3象限および第

4象限に分類される疾患を中心に、未充足な医療ニーズを的確に把握し、治療選択肢の拡充に向けた取り組みを継続していくことの重要性が示されている。一方で、これらの疾患の多くでは病態の理解や有効な創薬標的の同定が十分に進んでいない場合も少なくなく、企業単独の創薬努力のみでブレークスルーを創出することには限界がある。このため、創薬の前提となる疾患メカニズムの解明や基礎研究の深化に向けて、政府による継続的な研究基盤の支援が不可欠であるとともに、アカデミアや公的研究機関と製薬企業が連携しながら、未充足な医療ニーズに対応した研究開発を継続・深化させていくことが重要である。

### (3) 薬剤貢献度の向上と治療満足度の変化に関する分析

2014年度、2019年度、2024年度の3時点で治療満足度と薬剤貢献度を比較し、その変化率を算出した結果、両指標ともに上位10位以内に位置した疾患として、アトピー性皮膚炎、乾癬、SLE／全身性エリテマトーデス、悪性リンパ腫の4疾患が抽出された。これらは免疫異常あるいは免疫細胞の腫瘍化を背景とする疾患であり、近年の新規モダリティや新規薬理作用をもつ医薬品の導入が疾患ごとの治療環境の変化と並行して進展してきた点が共通していた。これら疾患に対して承認された新規成分をモダリティ毎に表3に整理した。

アトピー性皮膚炎については、この間に低分子薬としてヤヌスキナーゼ（JAK）阻害薬やホスホジエステラーゼ4（PDE4）阻害薬、外用から経口まで複数の剤形をもつ薬剤が承認され、炎症・免疫経路の異なる分子標的に対する治療選択肢が拡大した。一方、生物学的製剤では、インターロイキン（IL）-4／IL-13経路を標的とする薬剤に加え、IL-13特異的抗体、IL-31経路を阻害する薬剤などが導入され、アトピー性皮膚炎の病態生理に基づいたより精緻な治療が可能となった。これらの新規作用機序の薬剤は、既存治療では十分な改善が得られなかった患者層に対して効果を発揮し、重症度や症状特性に応じた層別化治療が進んだ点が、治療満足度および薬剤貢献度の上昇に寄与し

表3 薬剤貢献度と治療満足度の増加率上位疾患への新規承認成分

アトピー性皮膚炎 新規承認成分		悪性リンパ腫 新規承認成分					
small molecule drug	antibody drug	small molecule drug	antibody drug	multispicific antibody drug	antibody-drug conjugate	protein/peptide	CAR-T cell therapy
delgocitinib*	nemolizumab						
baricitinib*	tralokinumab	lenalidomide	obinutuzumab	epcoritamab	polatuzumab vedotin	denileukin diftitox	axicabtagene ciloleucel
upadacitinib*	lebrikizumab						
difamilast		alectinib	pembrolizumab	mosunetuzumab	brentuximab vedotin	pegaspargase	lisocabtagene maraleucel
abrocitinib*		tirabrutinib**					tisagenlecleucel
tapinarof		ibrutinib**					lisocabtagene maraleucel
<b>乾癬 新規承認成分</b>		acalabrutinib**					
small molecule drug	antibody drug	bendamustine					
upadacitinib*	tildrakizumab	tazemetostat					
deucravacitinib	bimekizumab	tucidinostat					
tapinarof	spesolimab	darinaparsin					
		valemetostat					
		pemigatinib					
		pirtobrutinib**					

\*：ヤススキナーゼ阻害薬

\*\*：ブルトン型チロシンキナーゼ阻害薬

出所：廣瀬 誠ほか「60疾患の医療ニーズ調査（2024年度調査の結果について）」医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 57（1）：70-84（2026）  
PMDA 令和元年度～6年度承認品目一覧（新医薬品、新再生医療等製品）、「明日の新薬（テクノミック作成）」、審査報告書をもとに医薬産業政策研究所にて作成

たと推察された。

乾癬においても、低分子薬として皮膚炎症を抑制する外用 PDE 4 阻害薬や JAK 阻害薬、チロシンキナーゼ 2（TYK 2）阻害薬といった経口キナーゼ阻害薬の承認により治療選択肢が拡大したほか、生物学的製剤では tumor necrosis factor（TNF）阻害薬に続き、皮膚炎症、角化亢進に影響する IL-17、関節症状に影響する IL-23、指定難病の膿疱性乾癬の主な病因サイトカインである IL-36等、各種炎症性サイトカインを標的とする薬剤が継続的に承認されていた。これらの薬剤は皮膚の改善速度や持続性、副作用プロファイルなどの点で従来治療よりも優れているとともに、乾癬の多様な病態に対してそれぞれが関連するサイトカインを標的としており、病態に応じた治療を可能にしたことで難治性乾癬に対する治療体系を大きく変化させた。病因となる標的分子が明らかにされ炎症経路を特異的に抑制することを可能としたモダリティ開発により、患者の症状、病態、併存疾患に応じた「個別化治療」の実現が医師の満足度向上の要因と考えられた。

悪性リンパ腫では、低分子薬に加えて、抗体医薬、多重特異性抗体、ADC、タンパク・ペプチド、さらには細胞医療といった多様なモダリティの薬剤が承認されていた。国立がん研究センター「がん情報サービス」によると悪性リンパ腫には100種類以上の病型が知られているとあり<sup>4)</sup>、極めて多様な病理を示す悪性リンパ腫に対して、異なる作用を有する薬剤群が治療手段の拡大に寄与してきたことが示唆された。特に再生医療等製品として数種類の Chimeric antigen receptor T（CAR-T）細胞が承認されたことで、難治性・再発例で幹細胞移植を受けることのできない患者の方々が治療機会を得ることが可能となった点は重要である。加えて、ブルトン型チロシンキナーゼ（BTK）阻害薬やヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）阻害薬、ヒストンメチル化酵素（EZH）阻害薬等の多様な病型に応じた新規薬理作用を有する経口低分子医薬品が複数承認されたことで、様々な病型を有する難治性患者の方々も外来治療が可能となるなど、治療選択肢の拡がりや治療利便性が提供された。これらの要素が総合的に作用した結果、医

4) 国立がん研究センター「がん情報サービス」  
<https://ganjoho.jp/public/cancer/ML/index.html>（参照日：2026年2月6日）。

師の治療満足度の向上に一定の影響を及ぼした可能性があると考察された。

SLE／全身性エリテマトーデスでは、当該期間で抗体医薬 anifrolumab が1品目承認されたのみであった。指定難病疾患だが、現在でもグルココルチコイドと古典的免疫抑制剤（azathioprine、cyclophosphamide、cyclosporine、tacrolimus）による治療が主体<sup>5)</sup>であり、新たな薬理作用を有する抗体医薬は本剤を含めてまだ2剤である。しかしこの期間には、SLEの重度な合併症であるループス腎炎に対して新たに2つの医薬品（rituximab、voclosporin）が承認されており、SLE患者の多様な症状に対する治療戦略に幅が広がってきた点は医師の評価向上に繋がったのではないかと推察された。

近年の医薬品開発の方向性として、単に新薬数が増加しただけではなく、病態に応じた分子標的を精緻に反映した新規モダリティが広がり、個別化治療を可能とする治療体系の高度化が進んでいることが明らかとなった。特に免疫関連疾患や悪性腫瘍性疾患では、多様な作用機序をもつ医薬品の導入が治療満足度・薬剤貢献度の改善に直結しており、今後もモダリティの多様化が医療現場での治療価値向上に寄与すると考えられる。今後は、疾患ごとのニーズの大きさや治療満足度の経時的な変化を医薬品開発動向と並行して把握し、真に

必要とされる領域への研究開発を促す仕組みが求められる。

## 5. おわりに

本稿では、医療ニーズ調査に基づく治療満足度・薬剤貢献度の変化と、近年承認された新医薬品・新規化合物の動向を概観した。分析の結果、免疫関連疾患や悪性腫瘍性疾患を中心に、新規モダリティや新たな作用機序をもつ医薬品の導入が治療価値の向上に寄与していることが確認された。一方で、領域によっては依然として治療選択肢が限られ、アンメット・メディカル・ニーズが残されている。

また、悪性腫瘍性疾患以外の領域では、モダリティの多様化やNMEの承認動向に大きな進展がみられない疾患も存在しており、依然として治療薬開発の不十分な疾患領域が存在していることが示唆される。今後は、疾患ごとの医療ニーズの大きさや治療満足度・薬剤貢献度の経時的な変化を継続的に把握し、医薬品開発動向との関係性を多角的に検討していくことが重要である。

本稿で得られた示唆が、医薬品開発の方向性を考える一助となり、未充足の医療ニーズの解消に向けた継続的な議論につながることを期待したい。

---

5) 日本内科学会雑誌112巻4号

[https://www.jstage.jst.go.jp/article/naika/112/4/112\\_674/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/naika/112/4/112_674/_pdf/-char/ja)

## 世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍 —2024年の動向—

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔  
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

### 要約

- 2015–2024年の期間において、創出企業国籍が日本の医薬品世界売上高上位100品目（以下、上位品目）数は2015–2022年の期間では減少傾向にあったが、直近3年間の品目数は2022年7品目、2023年8品目、2024年8品目と推移し、これまでの傾向とは異なる動きが見られた。
- 2024年の日本の新規ランクインは2品目であった。また、2023年から2024年にかけてのランクアウトは1品目であった。
- 2024年において、中国、フィンランドが1品目ずつ2003–2024年の期間内で初めて上位にランクインした。ともにL領域（抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬）に分類されていた。
- 2008–2020年においてバイオ医薬品は明らかな増加傾向を示していたが、2021–2024年の直近4年間においては48品目、45品目、48品目、48品目と推移していた。
- 上位品目のうち、化学合成医薬品の推移では、2015–2019年の売上高はほぼ変化していなかったが、2020–2024年では増加傾向にあった。
- 2015–2024年の期間において、Anatomical Therapeutic Chemical（以下、ATC）分類のうち、割合が高く推移しているのはL領域（抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬）、A領域（消化管と代謝作用）であった。2020–2024年の直近5年間に着目すると、A領域（消化管と代謝作用）、D

領域（皮膚科用薬）、C領域（循環器系）が毎年増加していた。

- 上位売上高のATC Descriptionでは、2023年と同様、2024年においてもGLP-1受容体作動薬（抗糖尿病薬、抗肥満剤）が売上高の最上位だった。

### 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<sup>1)</sup>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<sup>2)</sup>。今回、2024年の医薬品世界売上高上位品目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 2025に掲載されたリストから、従来と同様に後発品・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・治療薬を除いた世界売上高上位100品目を選抜し、今回の調査対象とした<sup>3)</sup>。

各品目の基本特許はクラリベイト・アナリティクス社のCortellis Competitive Intelligenceを用い、各品目の“Patent”に収録された特許のうち、“Product”に分類された特許をもとに特定した。これまで報告してきた分析手法と同様、以下のよう

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「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍—2023年の動向—」政策研ニュース No.74（2025年3月）

3) Copyright © 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2024をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

Pharma<sup>®</sup>（2025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「創業の場」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。

Anatomical Therapeutic Chemical（以下、ATC）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<sup>3)</sup>。また、本稿ではATC Descriptionを調査した。ATC Description は IQVIA World Review Analyst で用いられる独自の治療カテゴリ名であり、ATC 分類や添付文書に記載される MOA（Mechanism Of Action）と完全に一致するものではない点にご留意いただきたい。

化学合成医薬品は段階的な化学合成によって製造される医薬品（低分子）とし、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、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<sup>4)</sup>。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<sup>5)</sup>。

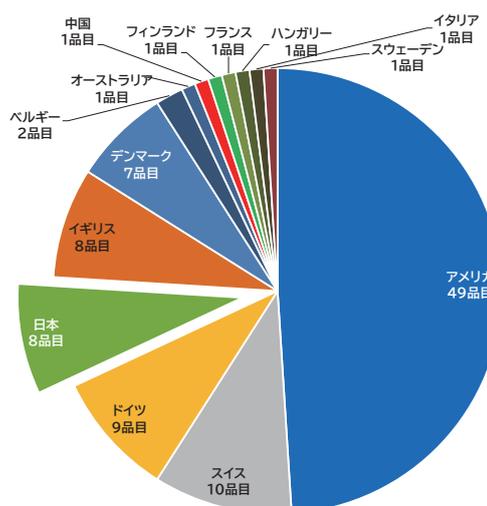
### 3. 結果

#### 3-1. 医薬品数

##### 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、医薬品創出企業の国籍別の医薬品数を

図1 医薬品創出企業の国籍別医薬品数



出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma<sup>®</sup>（2025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1に示した。2024年の調査において、日本（8品目）はイギリスと同数で4番手だった。2023年の調査<sup>2)</sup>では、日本（8品目）は6番手であった。2023年から2024年に掛けて全体の入れ替え品目総数は9品目であった。

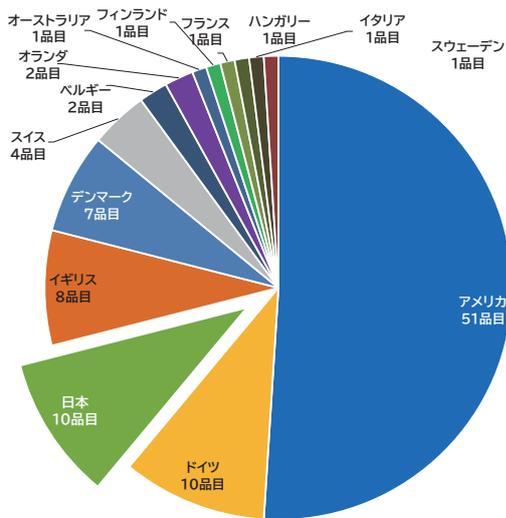
##### 3-1-2. 出願人国籍から見た国籍別医薬品数

出願人国籍別の品目数を図2に示した。2024年の調査において、日本は10品目でドイツと同数の2番手であった。2023年<sup>2)</sup>の調査では、日本（9品目）はデンマークと同数の3位だった。創出企業の国籍（出願時点で海外親会社がある場合には親会社の国籍）で2番手のスイス（図1）は、出願人国籍では6番手（4品目）であり、2023年と同様に、国外の傘下企業による特許の影響と考えられた<sup>2)</sup>。

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

5) FDA HP : <https://www.fda.gov>

図2 出願人国籍から見た国籍別医薬品数



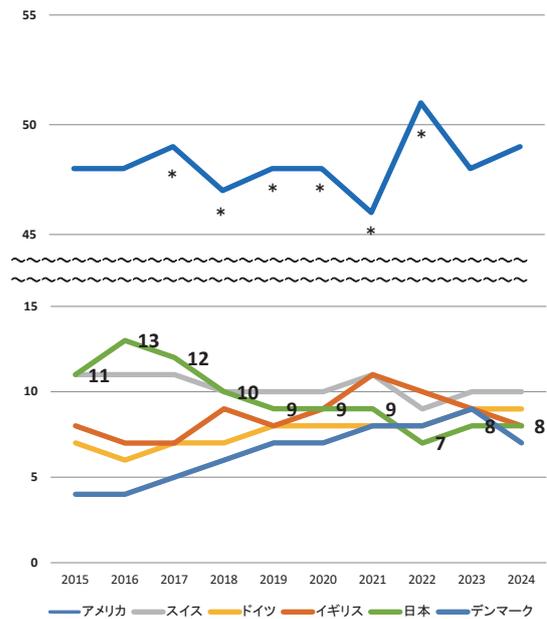
出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025年11月時点)、Clarivate Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）。

### 3-1-3. 医薬品創出企業の国籍別医薬品数年次推移

2015年から2024年までの上位品目における創出企業国籍推移（品目数上位6か国：2024年計91品目）を図3に示す。上位6か国の年次推移において、2015-2024年の10年間では、日本の上位品目数は減少傾向にあったが、2023年、2024年は2年連続8品目が上位に入り、2022-2024年の直近3年間では、2022年7品目、2023年8品目、2024年8品目と推移しており、これまでの傾向とは異なる動きが見られた（図3）。

次に、2003年から2024年までの世界売上高上位品目の創出企業国籍推移を表1に示す（2004-2007年、2009-2012年、2014年データなし）。2024年の調査では、中国、フィンランドが1品目ずつ本稿の期間内で初めて上位にランクインした。ともにL領域（抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬）に分類される医薬品であった。両国の異なる点として、フィンランドの新規ランクインした医薬品は、創出企業国籍、出願人国籍がともにフィンランドであった。一方、中国は創出企業国籍のみであった。また2024年にランクイン品目数が過去最高を更新した国はなく、ドイツが過去最高タイの品目数（9

図3 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© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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）。

品目）であった。

### 3-1-4. 新規ランクイン医薬品数の年次推移

2015-2024年に新規ランクインした上位品目数の年次推移を表2に示す（再ランクインを含む）。2023年の日本の新規ランクイン数は3品目で最も多かったが、2024年の日本の新規ランクイン数は2品目の2番手であった。なお、日本の2023年ランクアウト数は2品目で差し引き+1、2024年ランクアウト数は1品目で2023年と同様に差し引き+1だった（表3）。

### 3-1-5. 技術分類ごとの医薬品数

2024年の上位品目における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2023年の品目数と変わらなかった。2008-2021年の期間においてバイオ医薬品は増加傾向を示していたが、2021-2024年の直近4年間におい

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	2024
アメリカ	40	44	47	48	48	49*	47*	48*	48*	46*	51*	48	49
スイス	10	12	15	11	11	11	10	10	10	11	9	10	10
ドイツ	4	6	7	7	6	7	7	8	8	8	8	9	9
イギリス	14	9	8	8	7	7	9	8	9	11	10	9	8
日本	12	13	8	11	13	12	10	9	9	9	7	8	8
デンマーク	4	2	4	4	4	5	6	7	7	8	8	9	7
ベルギー	1	1	2	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	1
スウェーデン	6	6	2	2	2	2	2	2	2	1	1	1	1
イタリア	1	0	1	2	2	0	1	1	1	1	1	1	1
ハンガリー	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	1	1
オーストラリア	0	1	1	0	0	0	1	1	1	0	0	1	1
中国	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
フィンランド	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
イスラエル	0	1	2	1	1	1	1	1	1	0	0	0	0
ルクセンブルグ	1	1	1	1	1	1	1	0	0	0	0	0	0
カナダ	1	0	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	0

\*特許情報見直しにより修正。

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2003-2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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 創出企業国籍別の新規ランクイン品目年次推移（売上高上位6か国）

	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
アメリカ	5	6	9	4	4	3	2	9	2	4
日本	3	3	1	0	0	0	1	0	3	2
スイス	1	0	1	1	2	1	1	0	2	1
イギリス	0	0	1	2	2	2	1	0	0	1
デンマーク	0	0	1	1	1	0	2	0	2	0
ドイツ	1	0	2	0	1	0	1	0	1	0

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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）。

では48品目、45品目、48品目、48品目と推移し、これまでの傾向とは異なる動きが見られた(図4)。

2024年の化学合成医薬品52品目の創出企業国籍において、日本は5品目であり、ドイツと同数の2位だった(図5、2023年は5品目でイギリスと同数の3位<sup>2)</sup>)。2024年のバイオ医薬品48品目の創出企業国籍では、日本は3品目で6位であった(図6、2023年は3品目でドイツと同数の5位<sup>2)</sup>)。2024年に複数品目が上位品目にランクインした創出企業国籍のうち、バイオ医薬品が化学合成医薬

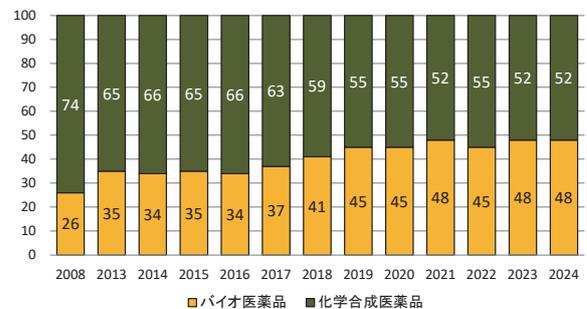
表3 創出企業国籍が日本の医薬品数年次推移

年	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
順位	2T	2	2	2T	3	3T	4	6	6	4T
品目数	11	13	12	10	9	9	9	7	8	8
新規ランクイン数	3	3	1	0	0	0	1	0	3	2
ランクアウト数	0	1	2	2	1	0	1	2	2	1
差し引き	+3	+2	-1	-2	-1	0	0	-2	+1	+1

注：順位 T はタイ（同順位が複数）を表す。

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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4 上位品目の技術分類別医薬品数推移



出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2008-2024, Evaluate Pharma® (2025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5 創出企業の国籍別医薬品数（化学合成医薬品：52品目）

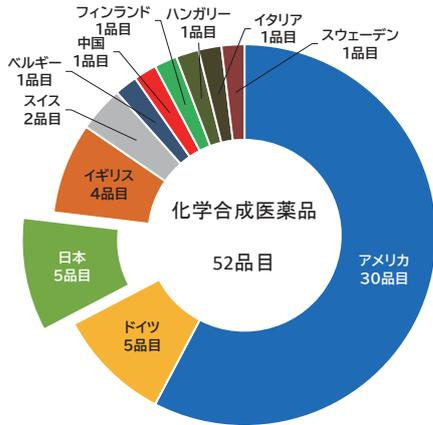
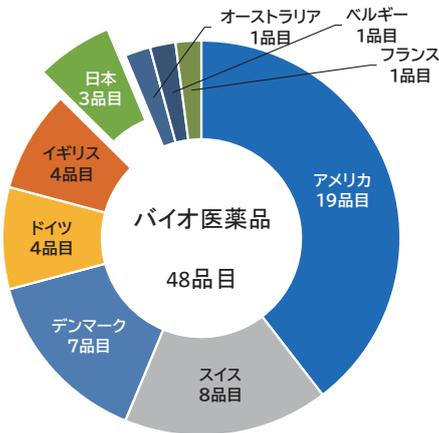


図6 創出企業の国籍別医薬品数（バイオ医薬品：48品目）



出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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）。

品よりも多い創出企業国籍は、スイス（バイオ医薬品8品目、化学合成医薬品2品目）、デンマーク（バイオ医薬品7品目、化学合成医薬品0品目）だった（図5、6）。

### 3-2. 売上高

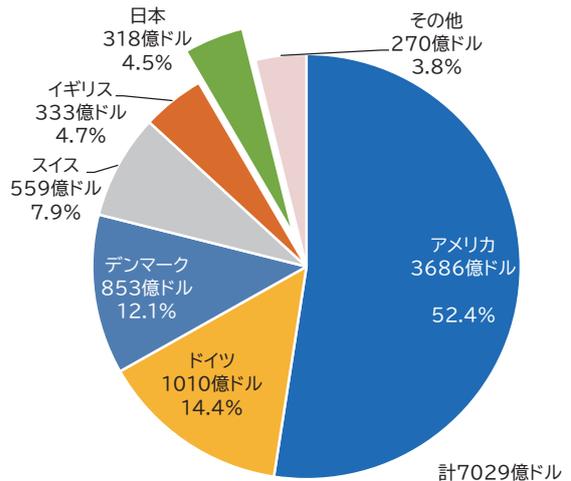
#### 3-2-1. 上位品目創出企業の国籍別売上高

上位品目売上高に占める国籍の順位は2023年<sup>2)</sup>と比べ変動はなかった。2023年<sup>2)</sup>から2024年に掛けて、割合が他国よりも大きく変化したのは、アメリカ（2.1%増）、ドイツ（2.0%減）であった（図7）。

#### 3-2-2. 上位品目の技術分類別売上高

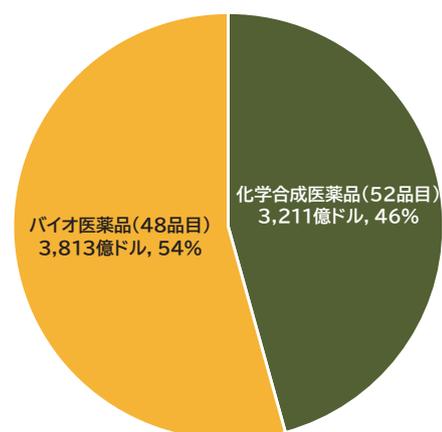
2024年の技術分類別売上高では、化学合成医薬品は3,211億ドル、バイオ医薬品は3,818億ドルであった。上位品目の内訳では化学合成医薬品数がバイオ医薬品数に比べ4品目多いが、売上高ではバイオ医薬品が8%高かった（図8）。

図7 上位品目の世界売上高に占める国籍別売上高割合



出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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8 上位品目の技術分類別売上高



出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2024, Evaluate Pharma® (2025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）。

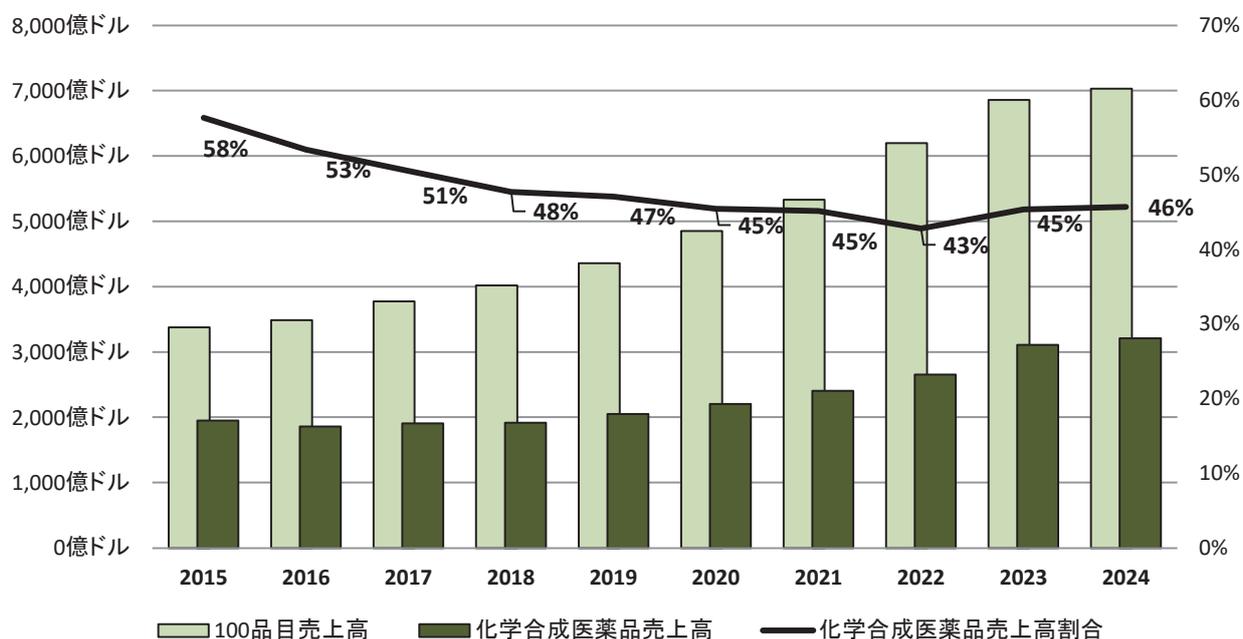
化学合成医薬品に着目し、売上高と上位品目売上高に占める割合を見ると、2015-2019年の期間において、売上高はほぼ変化していなかったが、2020-2024年では増加傾向にあった。また、2015-2022年の期間において、割合は58%から43%へ低下傾向を続けていたが、2022-2024年では、2022年43%、2023年45%、2024年46%と推移しており、これまでの傾向とは異なる動きが見られた(図9)。

### 3-3. 上位品目の Anatomical Therapeutic Chemical (以下、ATC) 分類

#### 3-3-1. 上位品目の ATC 分類 (品目数と売上高)

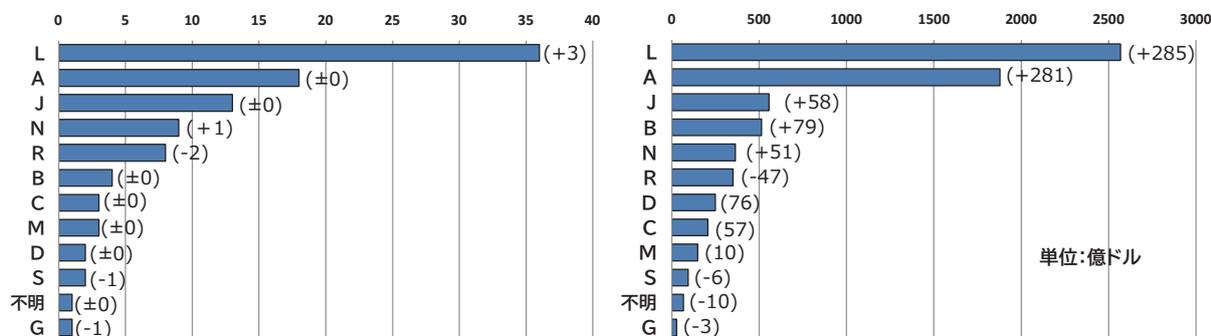
2024年上位品目のATC分類別品目数では、2023年<sup>2)</sup>と比べ、L領域(抗悪性腫瘍と免疫調節薬)が3品目増加した(33→36品目)。ATC分類別売上高では、L領域(抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬)が285億ドル、A領域(消化管と代謝作用薬)が281億ドル、2023年<sup>2)</sup>から増加した(図10)。

図9 化学合成医薬品の売上高および上位品目に占める割合推移



出所：Copyright © 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst Data Period 2015-2024, Evaluate Pharma® (2025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10 上位品目の薬効分類 (品目数、売上高)



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 泌尿器生殖系と性ホルモン  
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 感覚器系

出所：Copyright © 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2024, Evaluate Pharma® (2025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)。

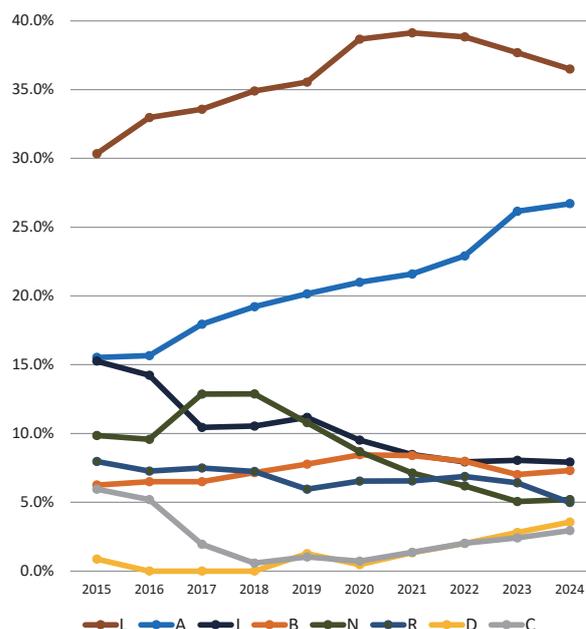
### 3-3-2. 上位品目 ATC 分類別売上高割合推移

上位品目売上高における ATC 分類別売上高割合の年次推移を図11に示す。2015-2024年の期間において、割合が高く推移しているのはL領域（抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬）、A領域（消化管と代謝作用）であった。2015-2024年の期間で5%を超える減少を示したのは、J領域（全身用抗感染薬）、N領域（神経系）であった。2020-2024年の直近5年間に着目すると、A領域（消化管と代謝作用）、D領域（皮膚科用薬）、C領域（循環器系）が毎年増加していた。

### 3-3-3. 上位売上高 ATC Description の特徴

上位売上高10位の ATC Description ならびに売上高を表4に示す。2023年と同様に、2024年においてもGLP-1受容体作動薬（抗糖尿病薬）（抗肥満剤（食事療法を除く）含む）が売上高の最上位だった。2023年から2024年に掛けての増加率は全身用乾癬治療薬が143.9%で最も高く、次いでGLP-1受容体作動薬（抗糖尿病薬）（抗肥満剤（食事療法を除く）含む）が137.3%であり、他の ATC Description よりも高率だった（表4）。2022-2024年の直近3年間で新たに上位品目に加わった

図11 上位品目の ATC 分類別売上高に占める割合の推移



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

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2015-2024, Evaluate Pharma® (2025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4 2023年、2024年上位売上高10品目の ATC Description 別売上高と前年比

2023年	ATC Description	売上高	2024年	ATC Description	売上高	2023-2024年前年比*
1	GLP-1受容体作動薬 (抗糖尿病薬、抗肥満剤)	783億ドル	1	GLP-1受容体作動薬 (抗糖尿病薬、抗肥満剤)	1075億ドル	137.3%
2	モノクローナル抗体製剤 (抗悪性腫瘍薬)	662億ドル	2	モノクローナル抗体製剤 (抗悪性腫瘍薬)	713億ドル	107.7%
3	TNF 阻害薬	568億ドル	3	インターロイキン阻害剤	579億ドル	118.1%
4	インターロイキン阻害剤	490億ドル	4	TNF 阻害薬	480億ドル	84.5%
5	直接的第 Xa 因子阻害薬	390億ドル	5	直接的第 Xa 因子阻害薬	465億ドル	119.4%
6	SGLT2阻害剤 (抗糖尿病薬)	304億ドル	6	SGLT2阻害剤 (抗糖尿病薬)	377億ドル	124.1%
7	プロテインキナーゼ阻害剤 (抗悪性腫瘍薬)	291億ドル	7	プロテインキナーゼ阻害剤 (抗悪性腫瘍薬)	325億ドル	111.3%
8	ヒトインスリンおよび インスリンアナログ製剤	275億ドル	8	抗 HIV 薬	270億ドル	100.3%
9	抗 HIV 薬	269億ドル	9	全身用乾癬治療薬	251億ドル	143.9%
10	全身用乾癬治療薬	174億ドル	10	ヒトインスリンおよび インスリンアナログ製剤	157億ドル	57.2%

注：前年比は2023年と2024年の同一の ATC Description を比較

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023-2024, Evaluate Pharma® (2025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）。

ATC Descriptionは7種だった。また、3年連続でランクインしていたATC Descriptionは26種あり、そのうち18種が売上高を増加させていた。

### 3-3-4. 各国の上位売上高 ATC 分類の特徴

創出企業国籍別に、2023年および2024年に上位品目へランクインした品目のATC分類、売上高、割合を図12、13に示す。日本においては2023年から2024年に掛けて、L領域（抗悪性腫瘍薬と免疫

調節薬）、N領域（神経系）の売上および割合が高まった。2024年の売上高上位3か国（アメリカ、ドイツ、デンマーク）においては、2023年から2024年に掛けてA領域（消化管と代謝作用）の売上高は減少したが割合は各国の中で1番手もしくは2番手であり、2023年から引き続き高い割合を占めていた。売上高4位（スイス）、5位（イギリス）、6位（日本）の上位品目の中にはA領域（消化管と代謝作用）が含まれていなかった。

図12 国籍別 ATC 売上高（上位6か国およびその他の国々）

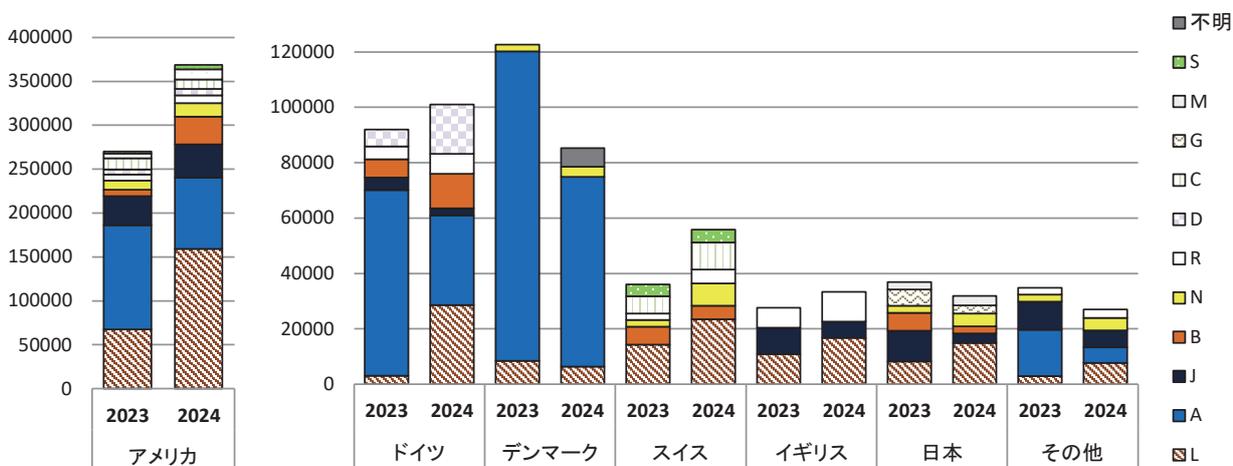
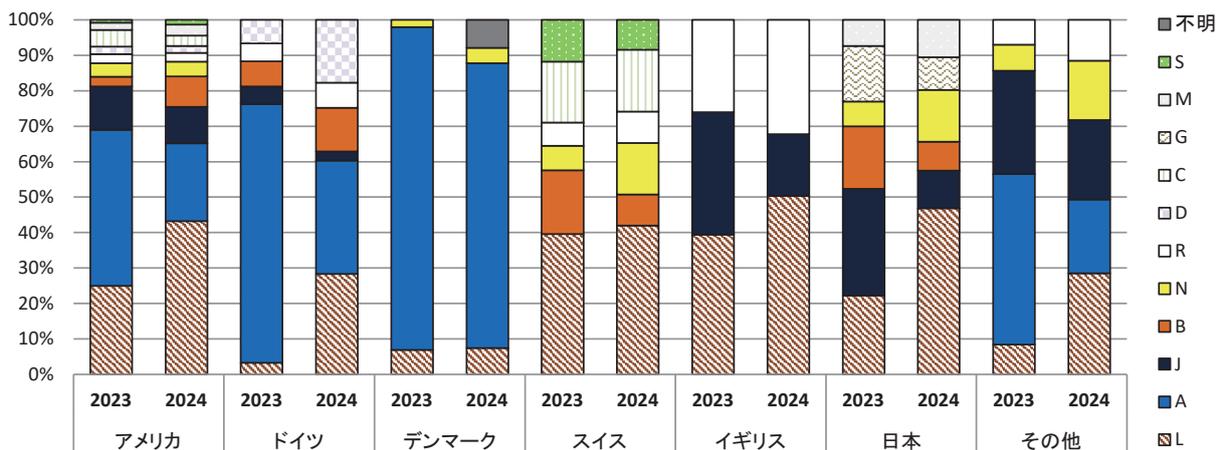


図13 国籍別 ATC 売上高割合（上位6か国およびその他の国々）



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泌尿器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 感覚器系

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2023-2024, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, Evaluate Pharma® (2025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. まとめ・考察

創出企業国籍が日本の品目は、2023、2024年において8品目が上位100品目にランクインした(表1)。日本の上位への新規ランクイン数、ランクアウト数の差し引きでは、2023年+1品目、2024年+1品目であった(表3)。日本では2003-2022年の期間において減少傾向(2003年12品目、2022年7品目)だったのに対し、直近3年間の傾向は異なっていた(表1)。このまま減少傾向から脱却し、増加傾向に転じるためには、上位品目にランクインする品目の創薬開発を続ける<sup>6)</sup>とともに、革新的な開発医薬品を評価し適切な価格を維持し得る市場環境が必要であろう<sup>7)</sup>。

新規ランクインおよび上位品目の中に、創出企業が中国、フィンランドの品目が初めて入った(表1)。とりわけ中国においては、過去の医薬産業政策研究所による調査報告からも、パイプライン数、提携・買収数、CDMO数など様々な項目において存在感を示しており<sup>8、9、10)</sup>、上位品目において近く中国創出品が数を増やすと予想される。

上位品目の技術分類別推移において、バイオ医薬品数は2008年の26品目から増加を続け、2021年には48品目に及んでおり、明らかな増加傾向にあった。一方、その後は2022年45品目、2023年48品目、2024年48品目と推移しており、これまでの傾向とは異なる動きが見られた(図4)。また、2015-2020年の期間において、横ばいに推移していた化学合成医薬品の売上高は2021年より増加に転じ

ている。上位品目売上高に占める化学合成医薬品の割合を見ても、2015-2021年では58%から45%へと低下傾向にあったが、2022年以降では低下傾向に歯止めがかかったように見える。近年において、上位品目に占めるバイオ医薬品数の増加傾向がいったん収束し、化学合成医薬品の売上高や割合が高まっている点は興味深い(図9)。化学合成医薬品とバイオ医薬品の増減の推移と比べ、異なる動きが見られた直近3年間に於いて、上位品目へ新規ランクインした化学合成医薬品医薬品のATC Descriptionを見ると、2022年4種、2023年1種、2024年2種が新たに加わっていた。これら7種(参照1)のATC Descriptionに含まれるPARP阻害剤やJAK阻害剤は、特定の標的に作用する化学合成医薬品として適応拡大を伴い売上を伸ばし、GLP-1作動薬や抗肥満薬、抗片頭痛薬は、体重低下<sup>11)</sup>や月間頭痛発作短縮<sup>12)</sup>など評価指標が明確で治療継続につながった。上位入りを支えたのは「標的の明確さ」「評価指標の明瞭さ」であり、化学合成医薬品の研究開発が生んだ新たなイノベーションの成果である。さらに、2022-2024年の期間において、上位品目にランクインをしている化学合成医薬品のATC Descriptionは全体で26種であり、そのうち18種(全体の69.2%)は直近3年間で売上高が増加していた。さらに、18種の中で2024/2022年売上高比の高い上位6種(全体の23.1%)では、2024/2022年売上高比が160%を上回っており(参照2)、化学合成医薬品とバイ

6) Alexander Schuhmacher, Markus Hinder, Nikolaj Boger, Dominik Hartl & Oliver Gassmann, "The significance of blockbusters in the pharmaceutical industry", *nature reviews drug discovery*, Volume 22, pp177-178, March 2023, <https://www.nature.com/articles/d41573-022-00213-z.pdf>

7) Shotaro Kinoshita and Taishiro Kishimoto, "Challenges introduced by Japan's drug pricing policy", *www.thelancet.com* Vol 51 October, 2024

8) 医薬産業政策研究所「米国開発パイプライン数に見る日本の創薬研究の現在位置」政策研ニュース No.76 (2025年11月)

9) 医薬産業政策研究所「前臨床段階への提携・買収実態調査-日本と他国の比較-」政策研ニュース No.76 (2025年11月)

10) 医薬産業政策研究所「CDMO 利用環境に関する日本の状況」政策研ニュース No.76 (2025年11月)

11) John P.H. Wilding, D.M., Rachel L. Batterham, M.B., B.S., Ph.D., Salvatore Calanna, Ph.D., Melanie Davies, M.D., Luc F. Van Gaal, M.D., Ph.D., Ildiko Lingvay, M.D., M.P.H., M.S.C.S. <https://orcid.org/0000-0001-7006-7401>, Barbara M. McGowan, M.D., Ph.D., Julio Rosenstock, M.D., Marie T.D. Tran, M.D., Ph.D., Thomas A. Wadden, Ph.D., Sean Wharton, M.D., Pharm.D., Koutaro Yokote, M.D., Ph.D., Niels Zeuthen, M.Sc., and Robert F. Kushner, M.D., for the STEP 1 Study Group, "Once-Weekly Semaglutide in Adults with Overweight or Obesity", *N Engl J Med* 2021 ; 384 : 989-1002

12) Carl H. Göbel, Axel Heinze, Katja Heinze-Kuhn, Ursula Müller, Anna Cirkel, "Evaluating Treatment Success in CGRP Antibody Prophylaxis : A Retrospective Cohort Study Comparing Monthly Migraine Days, MIDAS Scores, and HIT-6 Scores Hartmut GöbePain", *Ther* 14 : 1899-1914, 2025

オ医薬品両者を含む上位品目全体の2022-2024年売上高比平均131.9%、上位品目の化学合成医薬品全体の平均133.4%、バイオ医薬品全体の平均130.6%を大幅に上回っていた。6種のATC Descriptionは慢性疾患など長期治療が前提となる領域で用いられ、明確な臨床指標に基づき継続使用されている点が主な共通点として挙げられる。また、既存標準治療への上乗せや併用が可能なものも多く、対象患者数の広さと適応拡大が売上の安定成長を支えている。これらの事例も、新薬の開発戦略を検討する際に重要な情報となるであろう<sup>13)</sup>。

本稿では近年異なる傾向を示す化学合成医薬品について主に考察してきた。一方、バイオ医薬品では、2022-2024年の3年間で連続ランクインした33種のATC Descriptionのうち、24種(72.7%)の売上額が増加しており、化学合成医薬品の69.2%(18/26種)よりも高率だった(図表なし)。さらにバイオ医薬品の24種と化学合成薬品の18種を比べると、同種のATC Descriptionは3種しかなかった。つまり、高い売上高を伴い成長を続ける上位品目の標的(治療カテゴリー)は、バイオ医薬品と化学合成医薬品とで大きく異なると言い換えられる。今後は、バイオ医薬品と化学合成医薬品の標的(治療カテゴリー)の比較を行い、世界売上高上位の医薬品の傾向について調査していく。

2024年のATC分類において注目すべきはA領域(消化管と代謝作用)であった。2023年から2024年に掛けて、新規のランクイン品目は±0であったにもかかわらず売上高は281億ドル増加した。

ATC分類の中で最も売上高の高かったL領域(抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬)では、上位品目数3品目の増加を含めて285億ドル増えたことと比べても、A領域(消化管と代謝作用)の伸長は顕著であった。より詳細にATC Descriptionを見ると、ダイアベティスと肥満に用いられたGLP-1 agonistが2023年、2024年の2年連続で売上高の最上位であり、2023年から2024年に掛けて最も高い増加率を示していた(表4)。ダイアベティス、肥満に用いられたGLP-1 agonistは2024年度の調査において最も市場に影響を与えたMOA(Mechanism Of Action)であったと言える。しかしながら世界を取り巻く医薬品の市場環境においては、米国の関税政策や最恵国待遇価格政策、各国の医療・産業政策や薬価制度、物価変動、地政学的脅威など市場に大きな影響を与える不確実な要素が顕在化し、すでにダイアベティスや肥満の治療薬は影響を受ける品目の一つであると予測されている<sup>14)</sup>。様々な要因に伴い売上高の大きな変化が見込まれるため、これらの薬剤が2025年にどのような変動を示すか注視していく。

国籍別ATC上位売上高と割合において、日本に着目すると、2023年と2024年を比較した際の大きな変化は、2024年にL領域(抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬)、N領域(神経系)の売上高、品目割合が高まったことが挙げられる。前者は上位国を追随する傾向であり、後者は他国にはあまり見られない日本(およびスイス)の特徴であった(図19)。この傾向と特徴<sup>15)</sup>が今後の日本にどのように影響するかを引き続き調査していく。

13) Zhonglei Wang, Xin Sun, Mingyu Sun, Chao Wang 1 and Liyan Yang, "Game Changers : Blockbuster Small-Molecule Drugs Approved by the FDA in 2024", *Pharmaceuticals*, 18, 729, 2025

14) Fact Sheet : President Donald J. Trump Announces Major Developments in Bringing Most-Favored-Nation Pricing to American Patients, November 6, 2025, <https://www.whitehouse.gov/fact-sheets/2025/11/fact-sheet-president-donald-j-trump-announces-major-developments-in-bringing-most-favored-nation-pricing-to-american-patients/>

15) Emma Dorey, "Biopharma deals highlight innovative approaches to treating neurological diseases", *nature, biopharma dealmakers*, 02 September, 2024

参照 1

2022-2024年の期間に新規ランクインした 化学合成医薬品の ATC description	
2022年	リドミド系抗悪性腫瘍薬
2022年	抗片頭痛製剤
2022年	GLP-1受容体作動薬（抗糖尿病薬）
2022年	PARP 阻害剤（抗悪性腫瘍薬）
2023年	ウィルスワクチン
2024年	JAK 阻害剤
2024年	抗肥満剤（食事療法を除く）

参照 2

2022-2024年の期間で連続ランクインした 化学合成医薬品の ATC description	2024/2022年 売上高比
GLP-1受容体作動薬（抗糖尿病薬）	920.9%
抗片頭痛製剤	321.1%
その他の心疾患治療薬	250.9%
SGLT2阻害剤（抗糖尿病薬）	172.3%
抗コリン薬 + $\beta_2$ 刺激薬配合剤	162.0%
アンジオテンシン II 受容体拮抗薬配合剤	161.2%
リドミド系抗悪性腫瘍薬	149.6%
細胞毒性ホルモン拮抗薬	139.8%
便秘治療薬	133.2%
その他の抗悪性腫瘍薬	132.7%
特発性肺線維症治療薬	131.6%
プロテインキナーゼ阻害剤（抗悪性腫瘍薬）	130.3%
抗精神病薬	122.1%
PARP 阻害剤（抗悪性腫瘍薬）	122.0%
抗 HIV 薬	120.3%
直接的第 Xa 因子阻害薬	119.9%
消化薬（消化酵素を含む）	118.9%
腸管用抗感染症薬	115.7%
尿失禁治療薬	94.7%
嚢胞性線維症治療薬	92.8%
DPP-4阻害剤（抗糖尿病薬）	80.9%
精神刺激薬	74.4%
抗コリン薬（単剤）	72.9%
抗肝炎ウイルス薬	51.4%
$\beta_2$ 刺激薬 + 副腎皮質ステロイド配合剤	49.2%
その他の免疫抑制薬	44.5%

出所：Copyright© 2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2022-2024, Evaluate Pharma®（2025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）。

## 米国開発パイプラインの オリジネーター企業に関する調査

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 森本 潔  
医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔

### 要約

- 本稿では、Citeline 社のデータベース（Pharmaprojects<sup>®</sup>）を用いて、開発実施国に米国を含むものについてグローバル開発を志向したパイプラインと位置付けて抽出し、オリジネーター企業の本社国籍別及び企業分類別に集計した。
- 日本企業由来の米国開発パイプラインは製薬企業により創出されたものが大半であり、米国など他の主要な創薬国と比較してEBP由来のパイプラインが少なかった。また日本企業由来の米国開発パイプラインはどのモダリティでも製薬企業由来が多かった。
- 他の主要な創薬国を見ると、EBP由来の米国開発パイプラインの割合が大きい国として米国、中国、韓国があり、欧州諸国では製薬企業由来の割合が大きかったが、イギリス、フランスでは細胞、遺伝子治療など一部のモダリティではEBP由来の割合が大きかった。また、イギリス、フランスでは米国開発パイプラインにおける米国開発をEBPが自社で実施する割合が日本より高かった。

### 1. はじめに

医薬産業政策研究所では日本の創薬力の現状を評価すべく各種分析を行っている。前号では、Citeline社のデータベース（Pharmaprojects<sup>®</sup>）を用いてオリジネーター企業の本社国籍別に開発パイプライン数を調査し、モダリティや対象疾患について報告した<sup>1)</sup>。前号に引き続き本稿では、グローバル開発を志向した医薬品パイプラインとして米国または米国を含む複数地域で開発されるパイプラインに着目し、そのオリジネーター企業として製薬企業とEmerging Biopharma（以降EBP）がどのような割合で分布しているか調査した。近年の米国開発パイプライン、すなわちグローバル開発パイプラインの創出を担う組織としての製薬企業とEBPの影響力について考察した。

### 2. 調査方法

本稿では、前号と同様にCiteline社のデータベースである Pharmaprojects<sup>®</sup>から2025年7月時点で収載されていた開発パイプラインについてオリジネーター国籍別の分析を行った。本稿では、開発実施地域に米国が含まれるか、または米国単独のものをグローバル開発品と位置づけ、これに該当するパイプラインに限定して調査対象とした<sup>2)</sup>。

- 
- 1) 医薬産業政策研究所、「米国開発パイプライン数に見る日本の創薬研究の現在位置」、政策研ニュース No.76（2025年11月）
- 2) 米国開発パイプラインは下記の条件で抽出した。まず“Global Status”からPhase I Clinical Trial, Phase II Clinical Trial, Phase III Clinical Trial, Pre-registration, Registered を選択し、“Drug Country”としてUSAを選択した。このうち“Current Status”がPhase I Clinical Trial, Phase II Clinical Trial, Phase III Clinical Trial, Pre-registration, Registered に該当しないものは除外した。

以降本稿では米国開発パイプラインとする。米国開発パイプラインのモダリティ別分類は前号同様に Pharmaprojects<sup>®</sup>をもとに集計した<sup>3)</sup>。

企業分類は、Evaluate 社の Evaluate Pharma<sup>®</sup>を用いて各米国開発パイプラインのオリジネーター企業の設立年情報を抽出し、2024年の売上高を考慮して以下のように分類した。まず設立年別に、1989年以前の企業を“製薬企業”、1990年から2009年までの企業を“90-09年設立企業”、設立年が2010年以降の企業を“10年以降設立企業”とした。設立年情報が得られなかった企業または非営利団体など企業以外の組織は“不明その他”とした。また、設立年が1990年以降の企業であっても、2024年の売上高が10億ドル以上の企業については“製薬企業”に含めた。また、2024年の売上高が10億ドル未満で“90-09年設立企業”および“10年以降設立企業”を本稿では“EBP”と定義した。

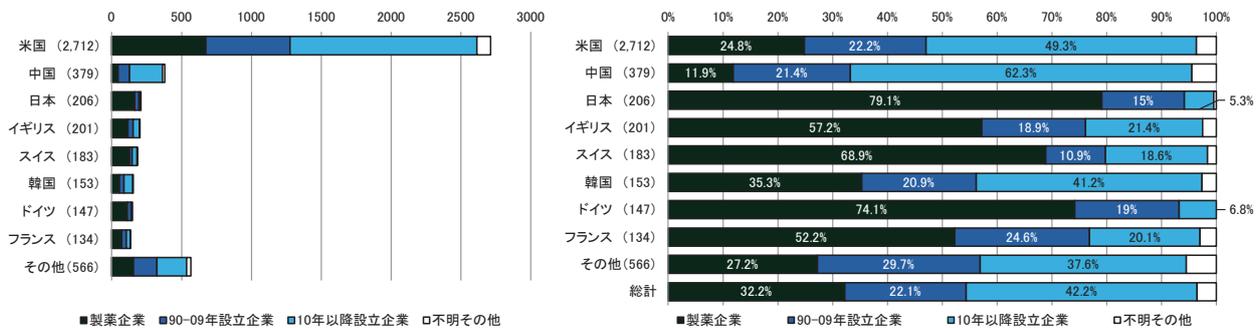
### 3. 結果

#### 3-1. オリジネーター国籍別、企業分類別の米国開発パイプライン数

Pharmaprojects<sup>®</sup>に2025年7月時点で収載されていたパイプラインから、米国単独または米国を含む複数地域で開発中のものを米国開発パイプラインとして4,681成分を抽出した。これらのオリジネーター国籍は前号<sup>1)</sup>で報告したとおり多い順に米国、中国、日本、イギリス、スイス、韓国、ドイツ、フランスとなり、これら8か国を本稿でも主要創薬国として調査対象とした。

各国の米国開発パイプラインのオリジネーター企業分類別の数及び割合は図1、オリジネーター企業数は表1のようになった。全体のうち製薬企業由来の米国開発パイプラインは32.2%、EBP由来は64.3%であった。また、42.2%が2010年以降に設立されたEBP由来のパイプラインであった。全体の比率と比較して、日本では製薬企業由来の割合が79.1%と大きく、EBP由来は20.3%であった。製薬企業の割合の大きさは日本が最大であったが、ドイツ、スイス、イギリス、フランスも全体

図1 オリジネーター国籍別、企業分類別の米国開発パイプライン数



出所：Pharmaprojects<sup>®</sup> | Citeline 2025 (2025年7月時点) 及び Evaluate Pharma<sup>®</sup>をもとに医薬産業政策研究所にて作成  
 注：左) 開発実施国に米国を含む開発パイプライン数、右) オリジネーター企業分類別米国開発パイプライン数の割合  
 ( ) 内の数値は国別の米国開発パイプライン数

3) モダリティの分類には Pharmaprojects<sup>®</sup>内の“Drug Type”を使用した。“Biological”に分類される成分については、以下の通り Pharmaprojects<sup>®</sup>内のパラメータをもとに再集計した。  
 ・低分子：“Small molecule”に分類される成分  
 ・Reformulation：“Reformulation”に分類される成分  
 ・抗体 ADC：“Antibody”に分類される成分  
 ・細胞、遺伝子治療：“Cellular”、“Gene therapy”、“Gene delivery vector”に分類される成分  
 ・Peptide、抗体以外の Protein：“Peptide”、“Protein (Antibodyを除く)”に分類される成分  
 ・核酸：“Nucleic Acid”に分類される成分  
 ・不明、その他のモダリティ：上記以外の成分

表1 本稿で集計した米国開発パイプラインのオリジネーター企業数（国別）

国名	製薬企業	90-09年設立企業	10年以降設立企業	不明その他	総計
米国	59	340	859	74	1332
中国	7	35	137	15	194
日本	30	22	6	1	59
イギリス	3	26	33	4	66
スイス	8	13	21	3	45
韓国	20	23	43	3	89
ドイツ	11	18	7	0	36
フランス	7	21	21	3	52
その他	47	114	159	26	346

出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025（2025年7月時点）及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成

と比較して製薬企業由来のパイプラインの割合が大きかった。逆に、米国、中国、韓国はEBP由来の割合が大きかった。

分析対象とした米国開発パイプラインのオリジネーター企業は2,219社あり、そのうち約半数は米国企業であった。次いで中国及び韓国企業が多く、イギリス、日本、フランス、スイス、ドイツと続いた。イギリス、フランス、スイスと日本を比較すると、米国開発パイプラインのオリジネーター企業であるEBP数は日本が28社であるのに対し、イギリス59社、フランス42社、スイス34社といずれも日本より多く、2010年以降設立のEBP数で見ると日本6社に対してイギリス33社、フランス21社スイス21社であった。

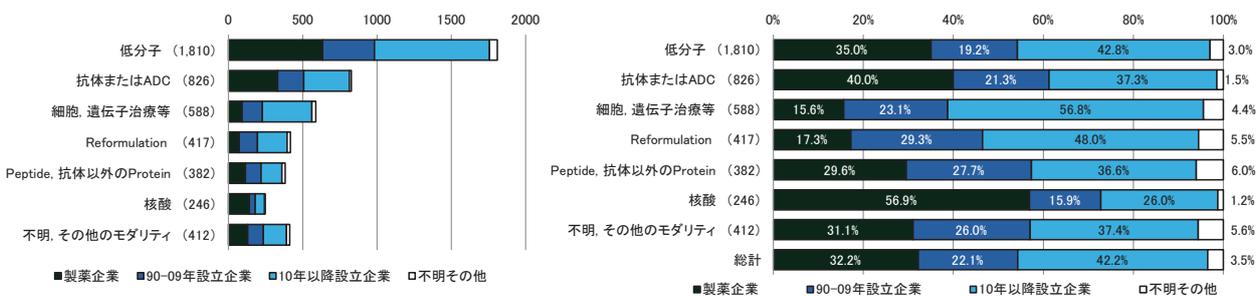
### 3-2. モダリティ分類別、企業分類別の米国開発パイプライン数

米国開発パイプラインをモダリティ別に分類し、各モダリティについて企業分類別のパイプライン数と割合を図2に、オリジネーター企業数は表2に示した。

米国開発パイプラインのうち、モダリティ別にオリジネーター企業数を見ると、低分子のオリジネーター企業は944社あり、このうち2010年以降に設立された企業が半数以上を占めていた。次いで細胞、遺伝子治療等が383社、抗体またはADCが365社と多かった。核酸は99社であった。

低分子、細胞、遺伝子治療等、Reformulation、Peptide、抗体以外のProteinではEBP由来のパイプライン数の割合が6割より大きく、2010年以降に設立された比較的新しいEBP由来のパイプラインの割合が大きかった。

図2 モダリティ分類別、企業分類別の米国開発パイプライン数



出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025（2025年7月時点）及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成  
注：左）開発実施国に米国を含む開発パイプライン数、右）オリジネーター企業分類別米国開発パイプライン数の割合  
（ ）内の数値はモダリティ別の米国開発パイプライン数

表2 モダリティ分類別、企業分類別の米国開発パイプラインオリジネーター企業数

モダリティ	製薬企業	90-09年設立企業	10年以降設立企業	不明その他	総計
低分子	116	242	541	45	944
抗体またはADC	63	90	204	8	365
細胞, 遺伝子治療等	42	95	227	19	383
Reformulation	51	90	162	20	323
Peptide, 抗体以外のProtein	49	91	124	21	285
核酸	24	29	43	3	99

出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025 (2025年7月時点) 及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成

核酸は製薬企業由来のパイプラインの割合が56.9%と大きく、抗体またはADCも製薬企業由来が40.0%となり比較的割合が大きかった。核酸について、本稿では製薬企業の条件として設立年に加えて2024年売上高を考慮したため2000年代以降設立など比較的新しい企業も製薬企業として扱っており、核酸パイプライン創出数の上位は製薬企業の中でも比較的新しい企業が占めていた。核酸領域ではかつて新興勢力であったEBPが開発に成功し、企業として成長している状況が考えられた。

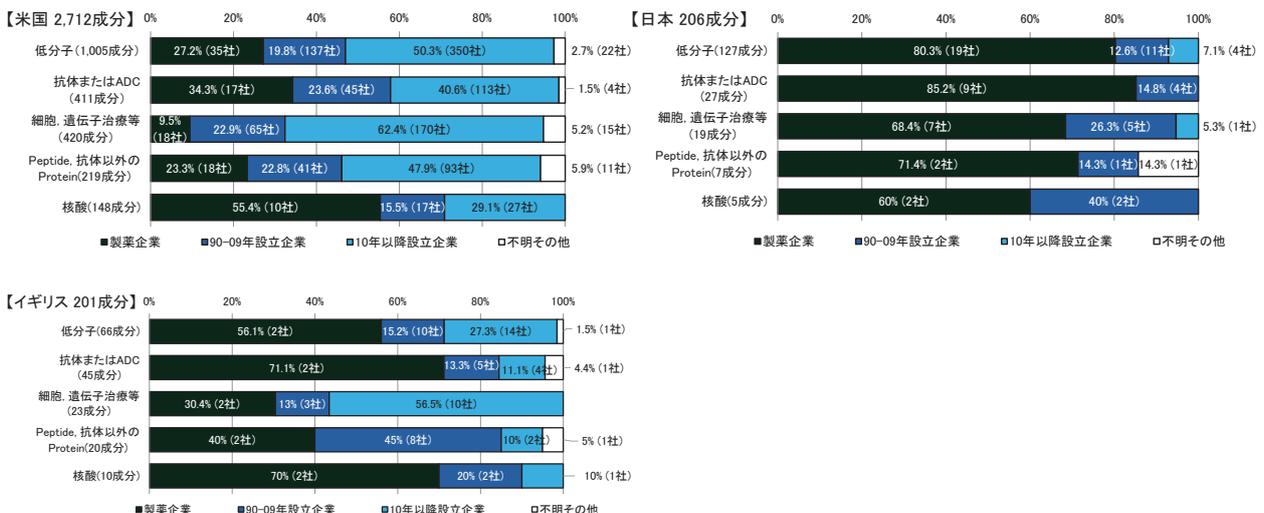
### 3-3. モダリティ分類別、企業分類別の開発パイプライン数の国別の特徴

3-2で示した各モダリティの企業分類別のパイ

プライン数のうち、低分子、抗体またはADC、細胞、遺伝子治療等、Peptide, 抗体以外のタンパク質、核酸の5種類に着目し、オリジネーター企業の国籍別に集計した。図3では、米国企業由来の2,712成分、日本企業由来の206成分ならびにイギリス企業由来の201成分について示した。

米国では核酸以外のモダリティでEBP由来のパイプライン数が占める割合が高かった。EBP由来の割合が大きい順に、細胞、遺伝子治療等、Peptide, 抗体以外のタンパク質、低分子、抗体またはADC、核酸の順であった。一方で日本は、いずれのモダリティでも製薬企業由来のパイプライン数の占める割合が高かった。日本EBP由来のパイプラインは42成分であり、そのうち2010年以降設

図3 モダリティ分類別、企業分類別の米国開発パイプライン数におけるオリジネーター企業分類別の割合 (米国、日本及びイギリス企業由来パイプライン)



出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025 (2025年7月時点) 及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成  
注：( ) 内は本稿で分析対象とした米国開発パイプライン数を示す。

グラフ上の数値はオリジネーター企業分類別の米国開発パイプラインの割合とオリジネーター企業数を示す。

表3 オリジネーター企業国籍別にみたモダリティ分類別、企業分類別の米国開発パイプライン数の要約

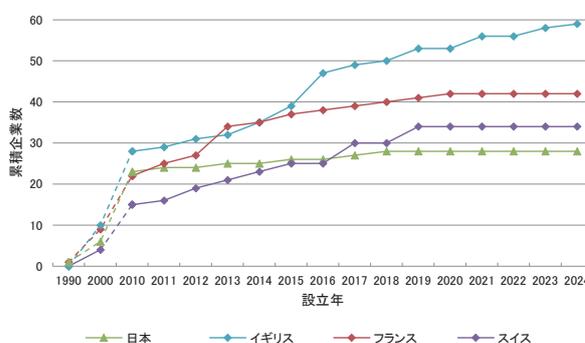
	低分子	抗体またはADC	細胞, 遺伝子治療等	Peptide, 抗体以外の Protein	核酸
米国	■	■	■	■	■
中国	■	■	■	■	■
日本	■	■	■	■	■
イギリス	■	■	■	■	■
スイス	■	■	■	■	■
韓国	■	■	■	■	■
ドイツ	■	■	■	■	■
フランス	■	■	■	■	■

出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025 (2025年7月時点) 及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成  
 ■ 製薬企業由来のパイプラインの占める割合が50%以上、■ EBP 由来のパイプラインの占める割合が50%以上

立の EBP 由来のパイプラインは11成分あったが、モダリティ別では低分子が9成分と多数であり、細胞、遺伝子治療等が1成分、その他のモダリティが1成分であった。イギリスはパイプライン全体では製薬企業のパイプライン数の割合が大きかったが、モダリティ別にみた場合に細胞、遺伝子治療等と Peptide、抗体以外のタンパク質で EBP 由来のパイプラインの割合が大きかった。

同様に、中国、韓国、スイス、ドイツ、フランスについても、着目した5種類のモダリティについて企業分類別の米国開発パイプライン数の割合を集計し、各国のパイプライン数のうち製薬企業由来が5割以上となるモダリティと、EBP由来が5割以上となるモダリティについて表3に示した。3-1で示したとおり、日本と欧州諸国は製薬企業由来のパイプラインの割合が大きく、米国、中国、韓国はEBP由来のパイプラインの割合が大きかったが、モダリティ別にみるとイギリスと同様にフランスでは細胞、遺伝子治療等と Peptide、抗体以外のタンパク質で EBP 由来のパイプラインの割合が大きく、逆に韓国では Peptide、抗体以外のタンパク質で製薬企業由来のパイプラインの割合が大きかった。

図4 米国開発パイプラインのオリジネーター企業となった EBP 数（累積）の年次推移



出所：Pharmaprojects® | Citeline 2025 (2025年7月時点) 及び Evaluate Pharma®をもとに医薬産業政策研究所にて作成

### 3-4. 日本、イギリス、フランス、スイスの EBP 数の累積推移、自社開発比率

図4ではオリジネーター企業数が日本と近いイギリス、フランス、スイスに着目し、米国開発パイプラインのオリジネーター企業となった EBP 企業の累積数を各 EBP の設立年毎に示した。図5では医薬産業政策研究所における先行研究<sup>4)</sup>にて調査した国内 EBP の企業数を再掲した。国内で設立された EBP 数と比べると米国開発パイプラインのオリジネーター企業数の伸びは小さく、2010年代以降ではフランス、スイスの EBP 数に抜かれ、イギリスとの差は大きくなった。

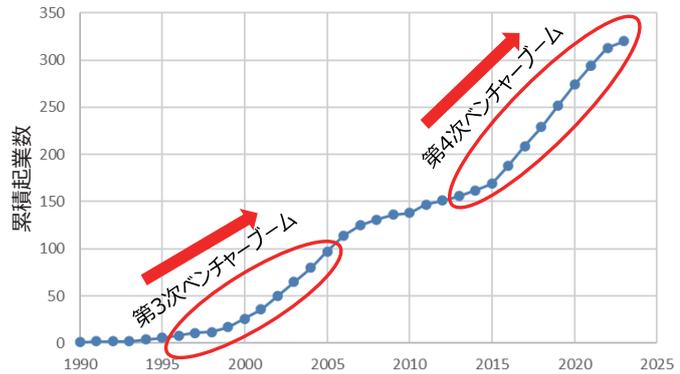
4) 医薬産業政策研究所、「開発品を有する国内新興医薬品企業 (EBP) に関する調査」、ポジションペーパー No.9 (2025年11月)

図5 国内 EBP の企業数<sup>4)</sup>

1990年以降に設立された国内EBPの現状

現状	企業数
Active	255
Inactive (acquired)	30
Inactive (bankrupt)	34
Inactive (merger)	2
総計	321

国内EBPの起業数の年次推移



出所：Evaluate Pharma（2025年10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4では、EBP由来パイプラインのうちEBP自身が米国開発を実施する割合を示した。日本のEBP由来パイプラインではEBP自身の開発割合が52.4%に対してイギリス75.3%、フランス76.7%、スイス61.1%となり、いずれも日本より高かった。

4. まとめ・考察

本稿では、米国または米国を含む複数地域で開発されるものをグローバル開発パイプラインと位置づけ、そのオリジネーター企業について調査時点において製薬企業とEBPどちらが多いか、すなわち企業分類別の寄与の大きさについて調査した。

前号より、調査時点において米国と中国を由来とするパイプライン数が突出して多く、また前臨床段階のパイプラインも含めた Citeline 社の報告<sup>5)</sup>ではこれら2か国に次いで韓国由来のパイプラインが多いとのことだった<sup>1)</sup>が、3-1で示した本

稿の結果としても米国、中国、韓国ではEBP、特に2010年以降設立のEBP由来パイプラインが多く、新規企業が活発に製薬産業に参入している状況がうかがわれた。

欧州各国は日本同様に製薬企業由来パイプラインが多かったが、3-3で示したとおり日本がどのモダリティでも製薬企業の寄与が大きいのにに対し、イギリスとフランスは、細胞、遺伝子治療等、Peptide、抗体以外のタンパク質で製薬企業よりEBPのパイプライン数が多かった。細胞、遺伝子治療等の米国開発パイプラインのオリジネーターEBP数は日本が6社であるのに対し、イギリスに13社、フランスに8社あり、この領域へのEBP参入が日本よりも活発化していると考えられた。

図4において、各EBPの設立年別に日本、イギリス、フランス、スイスの累積数を見ると、2010年以降では米国開発パイプラインを創出したEBP数は日本が欧州諸国より少なくなった。図5のと

表4 米国開発を EBP 自身で実施しているパイプライン数の割合

米国開発パイプライン数	日本 (42)	イギリス (81)	フランス (60)	スイス (54)
米国開発を EBP 自身で実施するもの	22	61	46	33
導出先企業が米国開発を実施するもの	20	20	14	21
EBP 自身で開発するパイプラインの割合	52.4%	75.3%	76.7%	61.1%

出所：Pharmaprojects<sup>®</sup> | Citeline 2025（2025年7月時点）及び Evaluate Pharma<sup>®</sup>をもとに医薬産業政策研究所にて作成  
 ( ) 内の数値は各国の EBP が創出した米国開発パイプライン総数

5) “Pharma R&D Annual Review 2025”、Citeline 社 HP（参照：2025/09/30）

おり日本国内のEBP数としては2010年以降も増加しているが、米国開発パイプラインのオリジネーター企業としてのEBPの伸びは鈍かった。2010年前後で日本国内のEBP設立数が伸び悩んだことも一因と考えられるが、加えて日本国内EBPの創出したパイプラインの多くが臨床開発に至っていないか、または日本国内のみで開発されるにとどまっている可能性が示唆された。

表4で示したとおり、米国での開発主体がオリジネーター企業であるEBP自身である割合についても日本よりイギリス、フランス、スイスの方が高かった。今回の集計で開発フェーズの考慮はしていないが、前号<sup>1)</sup>の報告で各国由来のパイプラインにおける開発フェーズの割合に大きな差はなかったことから、特にイギリスとフランスのEBPは臨床段階において米国を含む開発を自身で進めている様子が見てとれ、開発推進するための支援政策など外的要因が効果を発揮している可能性が考えられた。

前号より、調査時点において米国開発パイプラインのオリジネーター国籍として日本は米国、中国に次いで3番手であった。本稿の結果から、日本企業由来の開発パイプラインの約8割は製薬企業が創出したものであり、製薬企業の寄与の大きさは他国と比較して日本が最大である一方、EBPによる新薬創出への寄与は他国と比較して非常に小さかった。EBPによる新薬創出の活性化は日本の創薬力の伸びしろであると言えるが、日本に創薬スタートアップが少ない点は課題認識されつつも現状ではさらなる対策が必要な状態と言える<sup>6, 7)</sup>。製薬企業の寄与が大きい一方でEBP参入

も進められている欧州諸国の支援策は、日本の政策との比較研究対象として有用であると考えられる。一例としてイギリスではライフサイエンス分野への支援計画が整理されているが<sup>8)</sup>、そこでは開発初期段階のシーズ創出への資金援助にとどまらず、IT活用、治験環境整備、製造業への投資など既存のシステムも含む包括的な内容が提示されており、米中に次ぐ第3位の地位を目指すといった具体的目標が示されていた。特に、Commercial R&D（商業研究開発）への支援強化が組み込まれており、EBPの在り方として製薬企業へのシーズ導出や買収ありきではなく、開発後期から市販後まで見据えた支援の強化を考えるという点では、日本の創薬環境においても参考になる部分があるのではないかと期待される。

## 5. おわりに

本稿は前号に引き続き、2025年7月時点の米国開発パイプラインを対象とし、オリジネーターの企業分類別に分析したものである。創薬力として上位の米国や、近年急成長している中国、韓国と日本ではパイプラインを創出する企業の構成が全く異なっている点を改めて認識した。また、創出パイプライン数では欧州諸国は日本に肉薄しており、EBPも台頭しつつある状況だと考えられた。創薬力強化を議論する上では米国のみならず中国や欧州など複数地域を参照すべきで、日本の現状と比較しつつ各地域の優れた対策が適切に参照されるような議論を期待したい。

6) 「ヘルスケアスタートアップ等の振興・支援策検討プロジェクトチーム」の最終とりまとめ、厚生労働省（参照：2026/02/04）

7) 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中間とりまとめ、内閣官房（参照：2026/02/04）

8) Policy paper, Life Science Sector Plan published 16 July 2025, Gov UK（参照：2026/02/04）

## 創薬における地理的集積度の重要性

### —創薬オリジネーターおよび創薬支援環境の都市圏間比較—

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 吉浦知絵  
医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔

#### 要約

- 創薬における地理的集積度の重要性について検討するため、創薬オリジネーターと創薬支援環境について都市圏間の比較を行った。
- 2025年11月時点において、非臨床・臨床問わず創薬プロダクトを有する企業・機関を抽出し、それらが所属する半径100km都市圏に対して、以下のカウントを実施し都市圏ごとの特徴を調査した。
  - ▶創薬プロダクトのオリジネーター企業・機関数
  - ▶選択した企業・機関が所有する臨床入りしたプロダクト数
  - ▶選択した都市圏における企業・機関が実施したディール数
  - ▶選択した都市圏における製薬企業が有する研究拠点数および医薬品製造開発受託機関(CDMO)拠点数
  - ▶ New Molecular Entity (NME) 承認数
- 各都市圏ごとに特徴があり、主に製薬主導型、新興バイオスタートアップ企業 (EBP) 主導型、

総合型の3つのタイプに分けられた。東京、大阪、バーゼル、パリは製薬主導型、ボストン、サンフランシスコ、上海、サンディエゴはEBP主導型、ニューヨーク、ロンドンは総合型であった。

#### 1. はじめに

疾患の多様性や未充足医療ニーズに対応した創薬を継続的に行うには、革新的な技術や新しい概念を常に取り入れ、継続的にイノベーションを創出することが不可欠であり<sup>1)</sup>、薬として社会実装されるには多段階の過程を経る必要がある<sup>2)</sup>。また、この一連の過程を支えるために、各種試験受託機関や、医薬品に必要な品質基準を満たす製造受託機関などによる創薬支援も重要である<sup>3,4)</sup>。創薬プロセスは極めて長期的かつ高度に複雑であり、時代に即した効率化が常に求められている。

地理的近接性および集積性は、イノベーションの創出と研究開発効率の向上において重要な役割を果たすことが知られており<sup>5)</sup>、創薬においても同様のことが指摘されている<sup>6-8)</sup>。地理的に近接

1) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の承認状況」政策研ニュース No.77 (2026年3月)  
2) Ramarao Poduri et al. Discovery and Development: From Targets and Molecules to Medicines. Springer Nature (2021)  
3) CMC - Chemistry, Manufacturing and Controls in Drug Development: <https://pharmasource.global/content/cmc-chemistry-manufacturing-and-controls-in-drug-development-a-comprehensive-guide/>(参照:2026/1/5)  
4) Gunter Festel et al. Outsourcing of Pharmaceutical Manufacturing- A Strategic Partner Selection Process. J. Business Chem. (2014) 11 (3): 117-132  
5) 岡田羊祐、「4 研究開発と生産性」、イノベーションと技術変化の経済学、53-82頁、日本評論社、2019  
6) 長岡貞男、新薬創製～日本初の革新的医薬品の源泉を知る～、日経 BP、2016  
7) 牧兼充、イノベーターのためのサイエンスとテクノロジー経営学、東洋経済新報社、2022  
8) 医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国 EBP に関する調査」ポジションペーパー No.1 (2024年7月)

したアカデミア機関、新興バイオスタートアップ企業（Emerging biopharma：以下EBP）、製薬企業などの集積は、知識のスピルオーバー（knowledge spillover）を促進し、異分野間の協働を加速する。これにより、情報交換のコストが低減し、偶発的な交流や共同研究の機会が増加することで、創薬プロセスにおける効率化が期待される。さらに、集積地域では高度な専門人材やベンチャー資本が集中し、ディールが活発化されることで研究開発のエコシステムが形成される。そのため、革新的医薬品の創出では地理的要因は不可欠な要素となる。さらに、その場所において医薬品製造開発受託機関（Contract Development and Manufacturing Organization：以下、CDMO）の存在は、エコシステムの好循環を加速させる<sup>4)</sup>。

医薬産業政策研究所ではこれまでに承認品の特許出願国別調査や開発品目数の分析を行い、国別に創薬力比較を報告してきた<sup>9-11)</sup>。しかしながら、地理的近接性による集積度の重要性を論ずる場合、国レベルより狭い都市圏レベルでの調査が有効である。都市圏レベル調査としては、米調査会社スタートアップ・ゲノムによる2019年のライフサイエンス分野における都市別創薬スタートアップ・エコシステム・ランキング<sup>12)</sup>がある。この調査では、特定の地域における中心点から半径約100 km圏内に位置する（地域の実情に基づく例外は一部ある）共有リソースを都市圏集合体として、バイオベンチャーの活性化度合いを測定した。指標として、資金や人材、インフラ、政策などを総合し、スコア化したうえでランキングした。1番手

はサンフランシスコ、2番手はボストンであり、東アジアでは上海（9番手）、北京（11番手）といった中国都市圏がランクインしていた。その一方で、東京や大阪といった日本の各都市はベスト20にランクインしていなかった。

スタートアップ・ゲノムによるこの調査は、EBP由来の開発品目が多く占める現状を鑑みると、EBPを中心とした創薬エコシステムの観点からは非常に有用なものである。ただその一方で、製薬企業も含めたその都市圏にあるすべての創薬機関が生み出した開発品目数や創薬支援機関の存在などの指標は加味されていない。既存の大手あるいは中堅製薬企業自身が創薬研究を全く放棄したわけではない<sup>13-15)</sup>。製薬企業や化学企業等がオリジネーターとなっている医薬品は数多く社会実装化され、さらに開発が続けられている。またディールにおいても、EBPでは主に提携・導出や企業買収などのディールを通して自前で見出したプロダクトの製品化を目指す<sup>14, 16)</sup>が、製薬企業がオリジネーターのプロダクトであっても、ポートフォリオに合致しなかったり、当座の資金を獲得する必要が生じたりすれば、自社での開発はせず提携・導出するケースも多々ある。

我々は、各都市圏の創薬エコシステム評価として、スタートアップとしてのEBPだけではなく、創薬に関わるあらゆる担い手を包括的に捉えたうえで、世界の主要な集積地（都市圏）の創薬力の評価指標を作り、製薬企業の活動も含めた全体像の中で創薬エコシステムを可視化することにも意義があるのではないかと考えた。そのためには、

- 
- 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 - 2023年の動向 -」政策研ニュース No.74 (2025年3月)
  - 10) 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)
  - 11) 医薬産業政策研究所「米国開発パイプライン数に見る日本の創薬研究の現在位置」政策研ニュース No.76 (2025年11月)
  - 12) #GSER2019 Update: New Members, New Life Sciences Analysis: <https://startupgenome.com/insights/gser2019-update-new-members-new-life-sciences-analysis> (参照: 2025/12/30)
  - 13) 医薬産業政策研究所「創薬モダリティ別医薬品開発パイプラインから見た新規医薬品の創製企業 (Originator) に関する調査」政策研ニュース No.61 (2020年11月)
  - 14) 医薬産業政策研究所「アカデミア・創薬ベンチャー・製薬企業を中心とする協創型創薬の実態と展望」政策研リサーチペーパー・シリーズ No.81 (2023年9月)
  - 15) 医薬産業政策研究所「医薬品の研究開発の実態～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～」政策研リサーチペーパー・シリーズ No.82 (2024年3月)
  - 16) 医薬産業政策研究所「前臨床への提携・買収調査-日本と他国の比較-」政策研ニュース No.76 (2025年11月)

各都市圏間の創薬エコシステムを比較する必要がある。そのためには、研究力、人材、産業活動、資本、治験能力、インフラ支援、規制制度や市場アクセス、さらには人口や経済活動指標など、広範なインプットおよびアウトプット指標が必要<sup>17)</sup>である。しかしながら、それらをすべて収集することは困難である。

そこで本稿では手始めとして、主な薬剤創出国の各主要都市における、プロダクトを見出したオリジネーター企業数、その開発品目数、その都市にある CDMO 拠点数、その都市にある組織が関与したディール数、さらには製薬企業の本社数、研究拠点数などのカウントに焦点を絞り、創薬エコシステム評価の基となるデータを収集し、各都市の特徴を明らかにした。

## 2. 調査方法

### 2-1. オリジネーター企業・機関の抽出

臨床・非臨床問わず創薬関連のプロダクトを Evaluate 社 Evaluate Pharma<sup>®</sup> (2025年11月時点) をもとに抽出し、各プロダクトのオリジネーター企業・機関を収集した。オリジネーターは Evaluate Pharma<sup>®</sup> の定義に則り、各プロダクトに対してこの化合物の有効成分を最初に発見・発明した企業・機関とした。オリジネーターは発見・発明当時の名称とその所在地を採用した。

### 2-2. オリジネーター企業・機関分類

オリジネーター企業・機関は以下の5つに分類した。

- 1) 製薬企業：1989年以前創業した企業（中堅以上の製薬企業だけでなく、小規模の製薬企業や製薬でない化学企業、さらにはそれ以外の企業でも、創薬オリジネーターとして抽出された企業をすべて含む）、または1990年以降の創業であっても2024年度の売り上げが10億ドル以上の企業は製薬企業に分類した。

- 2) 1990年から1999年に創業した EBP。
- 3) 2000年から2009年に創業した EBP。
- 4) 2010年以降に創業した EBP。
- 5) アカデミア：大学のほか、病院、営利を目的としない研究機関とした。

### 2-3. 都市圏

都市圏は、米調査会社スタートアップ・ゲノムによる2019年のライフサイエンス分野における都市別創薬スタートアップ・エコシステム・ランキング<sup>12)</sup>を参考とした。すなわち、軸となる中心点(市)を一つ決め、その特定の地域における中心点から半径約100km圏内に位置する(地域の実情に基づく例外は一部ある)共有リソースの都市圏集合体とした。都市圏は医薬産業政策研究所にて調査した。

都市圏の選択は、2-1章で抽出したオリジネーター企業・機関が所属する国籍のうち上位9か国を選抜し、各国上位5都市圏まで、かつ、各都市圏企業・機関数が100以上の都市圏を選択した。製薬企業の所属都市圏は本社所在地とした。

### 2-4. 開発品目数

開発品目数は、上記で抽出したオリジネーター企業・機関が所有する臨床ステージにプロダクトを抽出し、Phase毎、企業・機関ごとに分類した。

### 2-5. ディール数

ディール数は、Evaluate 社 Evaluate Pharma<sup>®</sup> (2025年11月時点) より抽出した世界各国の企業・機関が、2020年1月～2025年11月の期間に実施した提携・買収をカウントし、ライセンスとなるオリジネーターを集計した。提携・買収案件には「ライセンス導入」「企業買収」「ジョイントベンチャー」「製品導入」「自社候補物質の外部との共同開発や自社ライセンス品と他社ライセンス品のコンビネーション等」が含まれる。

17) Manassé Drabo et al. Innovation Ecosystem Performance Indicators : Review of the Literature. Analytical Studies : Methods and References. (2024) Catalogue no. 11-633-X – No. 052

## 2-6. 製薬企業の研究拠点数

製薬企業の研究拠点数は、Evaluate Pharma<sup>®</sup>に掲載されている企業のうち、2-2章オリジネーター企業・機関分類にて“製薬企業”フラグがあり、かつ開発中のNew Molecular Entityのオリジネーター企業のうち、研究拠点情報が企業のホームページにあった123社の情報を収集した。

## 2-7. CDMO 拠点数

CDMO 拠点数は、Evaluate 社 CDMO Intelligence<sup>®</sup>（2025年11月時点）に掲載されていたCDMOの拠点情報を抽出し、注目した都市内の製造拠点数を収集した。CDMO intelligence<sup>®</sup>のフラグ“Development Phase Focus”について、Pre-clinical、および Clinical を開発品受託製造拠点として収集した。

## 2-8. 新有効成分含有医薬品数

新有効成分含有医薬品 (New Molecular Entity : 以下、NME) 数は、Evaluate 社 Evaluate Pharma<sup>®</sup>（2025年11月時点）から、2020-2024年にいずれかの国で最初に承認されたNMEをカウントした。

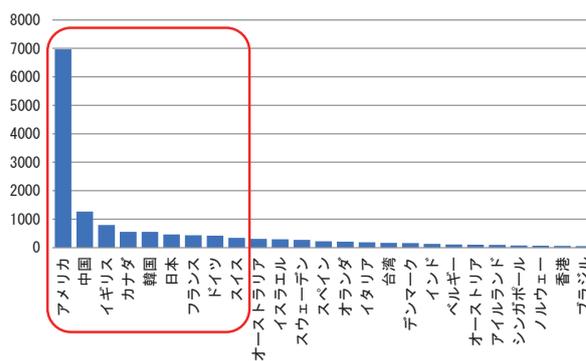
上記で収集した情報はすべて、医薬産業政策研究所にて補足・補完したうえで本稿のデータとして使用した。

## 3. 結果

### 3-1. オリジネーター企業・機関所属都市圏

調査時点で創薬テーマを有するオリジネーターのうち、調査が可能であったものは14,888企業・機関であった。国籍別ではアメリカが最も多く、次いで中国、イギリス、韓国、カナダと続き、日本は6番手、以下、フランス、ドイツ、スイスと欧州各国が続いた(図1)。ここから企業数が上位9か国を選び、各国上位5都市まで、各都市の企業数100以上、中心都市からの100キロ圏をエリアとし、都市圏として選抜した。選抜都市圏は、アメリカからサンディエゴ、サンフランシスコ、ニューヨーク、フィラデルフィア、ボストン、中国から広州、上海、北京、イギリスからロンドン、韓国からソウル、カナダからトロント、バンクーバー、

図1 国別オリジネーター数



出所：Evaluate Pharma<sup>®</sup>（2025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）

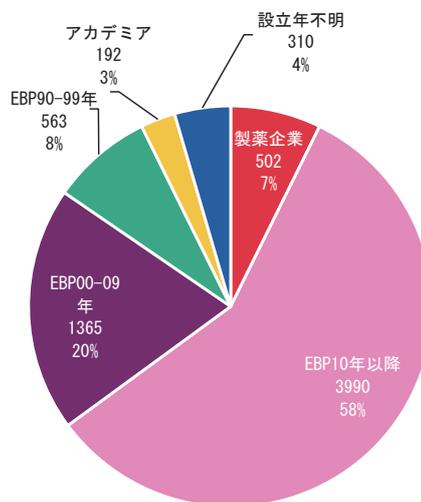
モントリオール、日本から大阪、東京、フランスからパリ、ドイツからミュンヘン、スイスからジュネーブ、バーゼルとなった。調査した全企業・機関に対する選択した都市圏にある企業・機関数は6,922で、その占める割合は37.5%であった。

### 3-2. 都市圏別オリジネーター数、オリジネーター分類

選択した都市圏に対して、創薬プロダクトのオリジネーターとなっている企業・機関数およびオリジネーター企業・機関分類をカウントした(図2)。製薬企業は全体の7%にすぎず、EBPは全体の86%を占めた。アカデミアは3%であった。

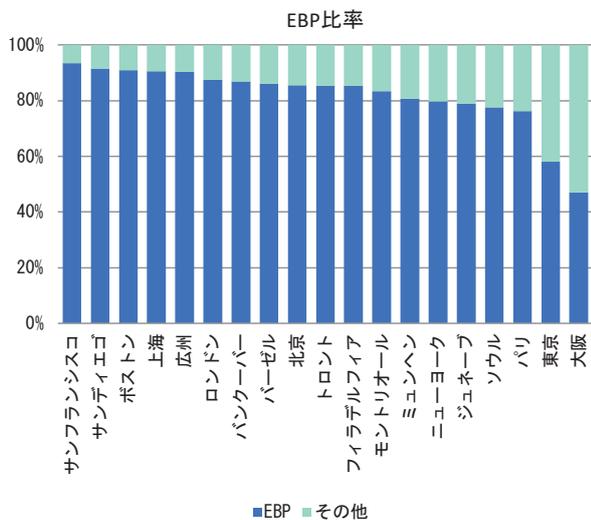
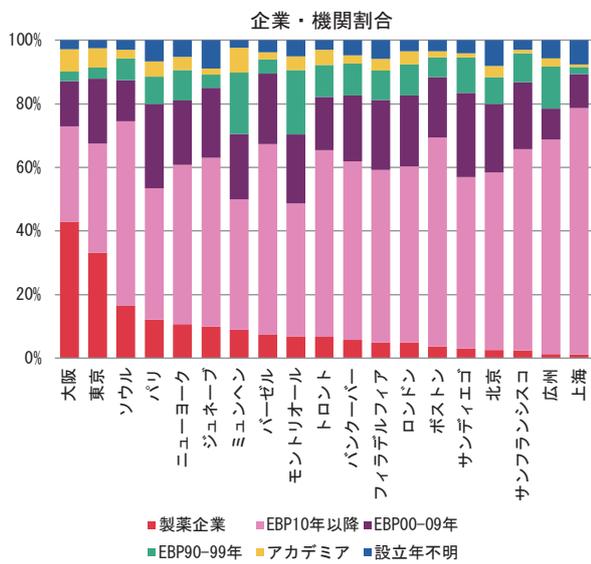
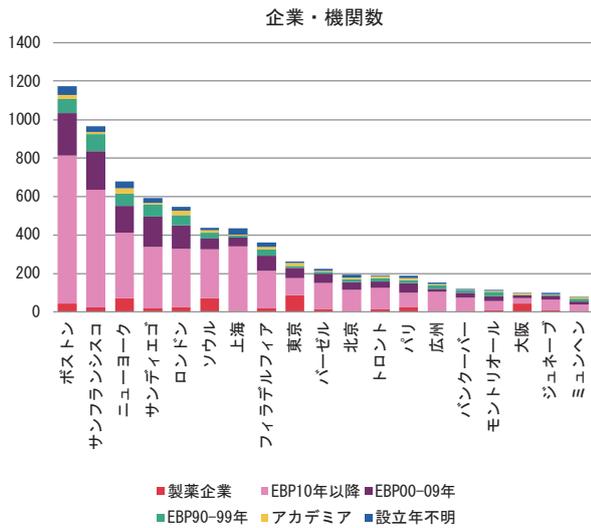
次に都市別に分類してカウントした。(図3上)。

図2 オリジネーター企業・機関数



出所：Evaluate Pharma<sup>®</sup>（2025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3 都市圏別オリジネーター企業・機関数および割合



出所：Evaluate Pharma<sup>®</sup>（2025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）

オリジネーター企業・機関数が最も多かったのはボストンで、そのあとサンフランシスコ、ニューヨーク、サンディエゴとアメリカの都市圏が続き、5番手にロンドンがきた。東京は9番手、大阪は17番手であった。最も多かったボストンには、全オリジネーター企業・機関のうち7.8%が集積していた。

次にオリジネーター企業・機関の分類割合を見た(図3中)。製薬企業割合が高い順に左から並べたところ、最も高いのは大阪、次いで東京と、日本の2都市圏がどちらも35%以上と群を抜いて高かった。その後ソウル、パリ、ニューヨークの順で続いた。

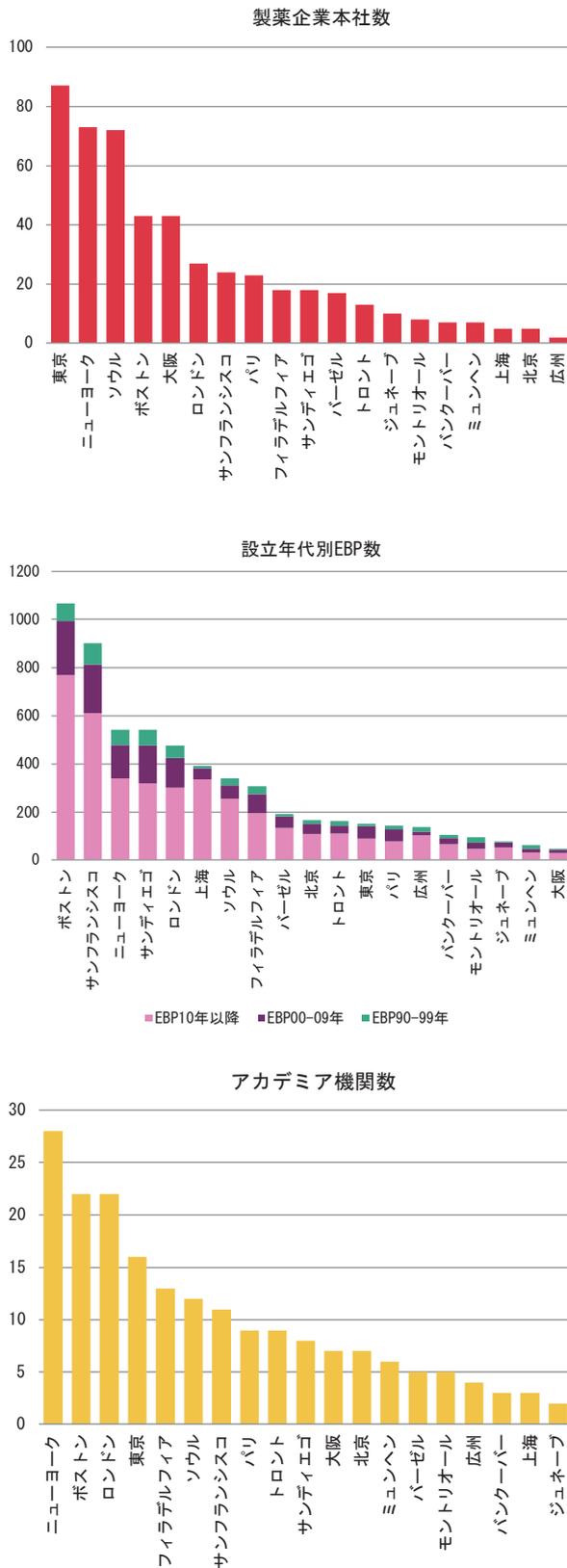
逆にEBP割合が高かったのは、中国各都市圏、サンフランシスコ、サンディエゴ、ボストン、ロンドンであった。図3中からEBPのみ抽出し、EBP比率を見た(図3下)。最も高かったのはサンフランシスコで93%、次いでサンディエゴ、ボストン、上海、広州、ロンドンがそれぞれ91%、91%、90%、90%、87%と、これらの都市圏でEBP率が高かった。

次に、図3から各企業・機関別に抽出し、降順にソートした(図4)。製薬企業本社数が最も多いのは東京で、続いてニューヨーク、ソウルと続いた。中国各都市圏は製薬企業数が少なかった。EBPを見ると、ボストンとサンフランシスコが頭抜けて多く、その次にニューヨーク、サンディエゴ、ロンドン、上海と続いた。EBPの中でも2010年以降に設立された企業が多数を占め、2010年以降に絞ると上海が3番手であった。アカデミア機関数は、ニューヨーク、ボストン、ロンドンに続いて、東京が4番手であった。ジュネーブ、上海、バンクーバーは少なかった。

### 3-3. 都市圏別開発品目数（オリジネーターで分類）

本章では、前章3-2. で調査したオリジネーター企業・機関が創出した開発品目数(Phase 1-Phase 3)について調査した。調査段階における全開発品目数は19,688品目であった。そのうち前章3-1. で抽出した都市圏に所属する企業・機関が創出した品目数は10,447品目で、全体の53.0%を占めた。

図4 企業・機関分類別数



出所：Evaluate Pharma®（2025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）

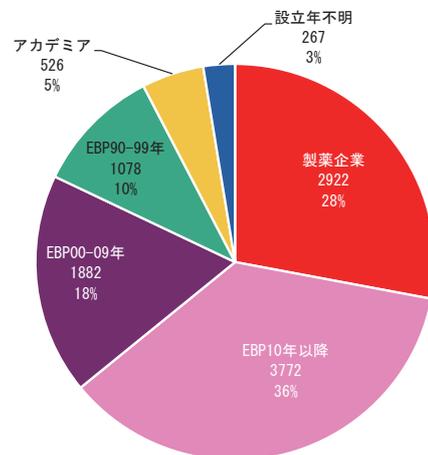
この10,447品目について、企業・機関別に分類したところ、最も多かったのは2010年以降に設立されたEBP由来品で、全体の36%を占めた。次が製薬企業由来品で全体の28%を占めた。1990年以降のすべてのEBP由来品は、全体64%に上り、開発品のオリジネーター（由来品）の2/3はEBP由来であった（図5）。

図5を都市圏別に分類したところ、開発品目数では、ニューヨーク、ボストン、サンフランシスコといったアメリカ各都市圏が上位3番手までを占め、その後上海、ロンドン、ソウルと続いた。東京は8番手、大阪は14番手であった。全開発品目数に占める割合は、最も多かったニューヨークで7.1%であった（図6上）。

次に企業・機関別分類の割合において、製薬企業の割合が多い順に左から並べたところ、東京、大阪、バーゼル、ニューヨーク、パリで、製薬企業由来の品目数の占める割合が多かった。一方、広州、上海といった中国各都市圏、およびカナダ各都市圏、サンフランシスコやボストンでは、EBP由来の割合が多かった（図6下）。

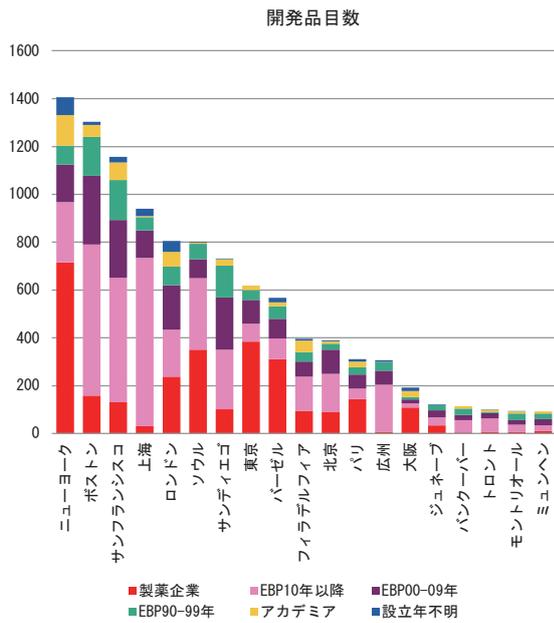
次に図6上から各企業・機関別に抽出し、降順にソートした（図7）。製薬企業がオリジネーターの品目数は、上からニューヨーク、東京、ソウル、バーゼル、ロンドンの順であった（図7上）。2024年度の売上別で企業を分類したところ、ニューヨーク、バーゼル、ロンドンでは売上高50億ドル以上

図5 オリジネーター企業・機関別開発品目数

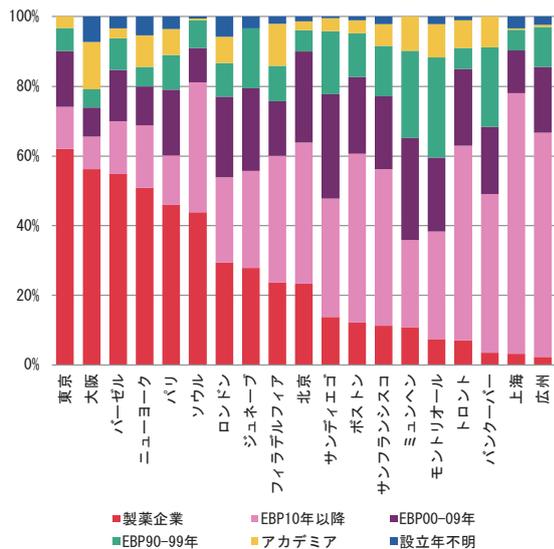


出所：Evaluate Pharma®（2025年11月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図6 都市圏別開発品目数（オリジネーター別）



開発品目数割合

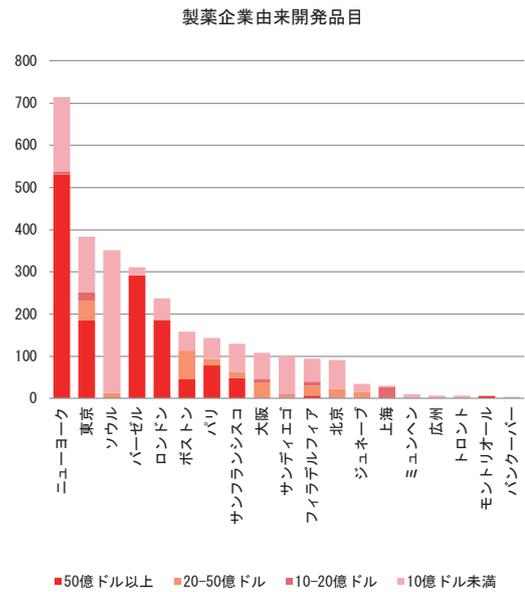


出所：Evaluate Pharma®（2025年11月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

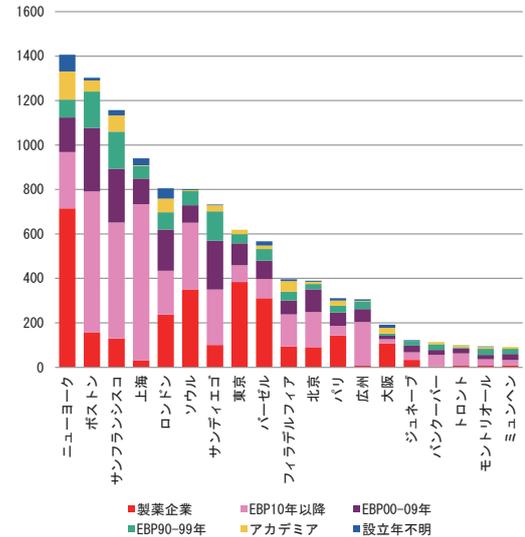
の大企業由来品が75%以上を占めた。東京、パリはどちらも、大企業由来品が50%程度で残りが中堅企業由来品であった。ソウルでは10億ドル未満の小企業由来品目が大半であった。なお、本分析における「大企業」「中堅企業」「小企業」の分類は、2024年度の年間世界売上高を基準とし、それぞれ50億ドル以上、10～50億ドル、10億ドル未満と定義している。

EBP 由来品目では、ボストン、サンフランシスコ、上海、サンディエゴといった、EBP が多数存

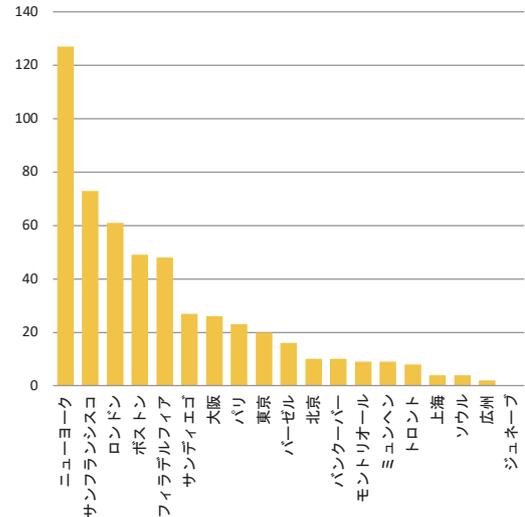
図7 都市圏別開発品目数（企業・機関別）



EBP由来開発品目数



アカデミア由来開発品目数



出所：Evaluate Pharma®（2025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）

在する都市圏由来の品目が上位を占めた（図7中）。また上海は2010年以降に設立されたEBPの数が最も多かった。また、製薬由来の品目が多かったニューヨーク、ロンドン、ソウルにおいても、EBP由来品目が数多くあった。その一方で、バーゼル、東京、パリはEBP由来品目数は少なかった。

アカデミアがオリジネーターとなっている現行開発品でもっと多かった都市圏は、ニューヨーク、続いて、サンフランシスコ、ロンドン、ボストンの順となった（図7下）。ニューヨークでは大学に加えて、病院や非営利研究所由来品が多かった。日本の各都市圏では、大阪が7番手、東京が9番手であった。大阪は大阪大学、東京は理化学研究所由来品が多くを占めていた。

### 3-4. デील数

1章でも述べたように、近年の創薬プロセスでは水平分業型が主流となっている。アカデミアやそこから派生したバイオベンチャー由来の品目は、水平分業による協業が欠かせず、ライセンスやアセット導出といった提携や買収等のデールが数多く実施されている。またたとえ製薬企業がオリジネーターであったとしても、創薬プロセスにおいては研究開発が長期にわたり、その間にポートフォリオ自体が状況に応じて変化していくため、自社ポートフォリオに合わないアセットを所有しているケースでは、これらはデールプロセスを取る可能性は高い。そこで本章では、導出デールを行ったオリジネーター企業・機関が有する品目数について、所属都市圏を比較した。

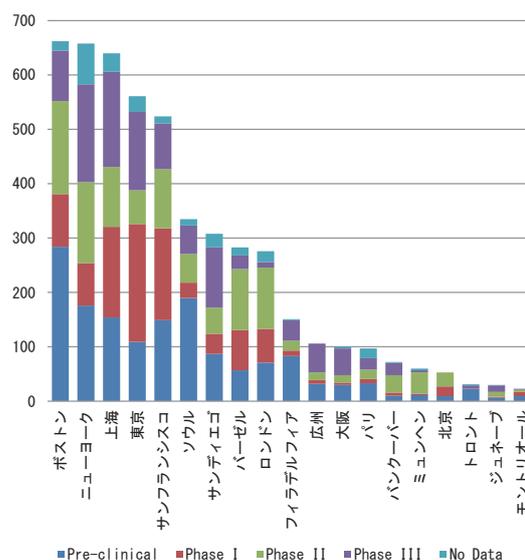
2020-2025年のオリジネーター企業・機関から導出されたプロダクトの開発ステージ別の総デール数を見た（図8）。デール総数は8,356件であった。ボストン、ニューヨーク、サンフランシスコのアメリカ各都市圏に所属するオリジネーター由来品の総導出デール数が、それぞれ1、2、5番手となった。3番手は上海由来品で中国躍進の中心を担っていた。東京は総デール数は4番手で活発な導出デールが行われていた。フェーズ別では、ボストンでは、プレクリニカル段階での導出デールが、東京由来品では臨床段階

特にPhase 1での導出デールが多かった。非臨床段階デールでは、ボストンが最も多く、東京は6番手であった。

図8をオリジネーター企業・機関に分類して降順にソートした（図9）。上海、ボストンでは2010年以降に設立されたEBP由来品のデールが多数を占めていた。これに対して、ニューヨーク、東京、大阪、バーゼル、パリでは、製薬由来品のデールが多かった。ソウルは、製薬、EBPどちらも積極的に導出デールを行っていた。

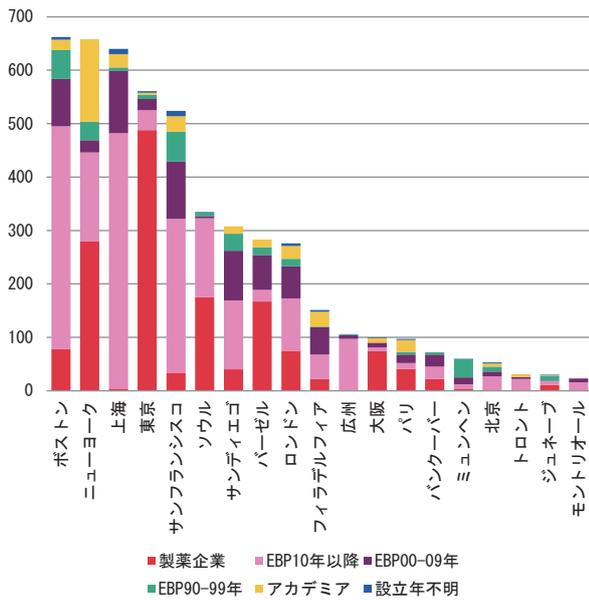
デールがインターナショナルで行われているのか、ドメスティックにとどまるのかをみた（図10）。インターナショナルとは導出（提携買収も含む）元と導出先の国籍が違う場合、ドメスティックは同じ場合を指す。インターナショナルデール数の多い順にソートした結果、東京がトップで、上海、ボストン、ニューヨークと続いた。一方、ドメスティックデールが多いのは、ニューヨーク、ボストン、サンフランシスコ、サンディエゴ、上海などEBPの活動が盛んな都市圏であった。先に見たようにソウルは製薬企業由来品もEBP由来品もどちらも導出デール数が多く、自社由来品を積極的に外国に導出しているものと推察された。

図8 オリジネーター企業・機関由来プロダクトのフェーズ別導出品目数



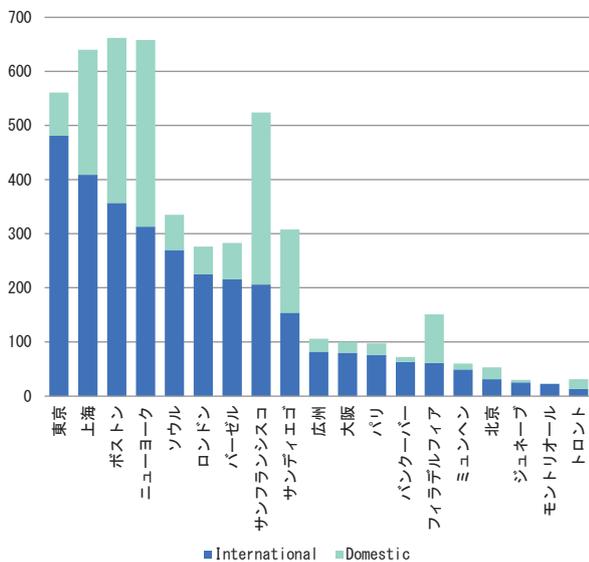
出所：Evaluate Pharma®（2025年11月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図9 オリジネーター企業・機関別プロダクト導出品目数



出所：Evaluate Pharma®（2025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10 国内外別ディール数（国内外別）

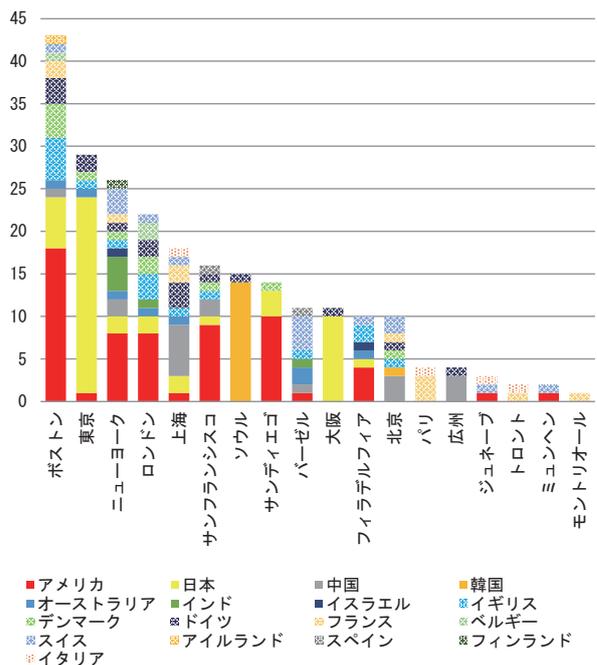


出所：Evaluate Pharma®（2025年11月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

### 3-5. 製薬企業の研究拠点数

製薬企業の研究拠点の有無は、知識や技術の集積、資金やノウハウの面からのスタートアップの誘発、人材交流などの観点から創薬エコシステムにも大きな影響を与えると考えられる。そこで、本章では、各都市の製薬企業の研究拠点数をカウ

図11 製薬企業の研究拠点数およびその本国籍



出所：Evaluate Pharma®（2025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）

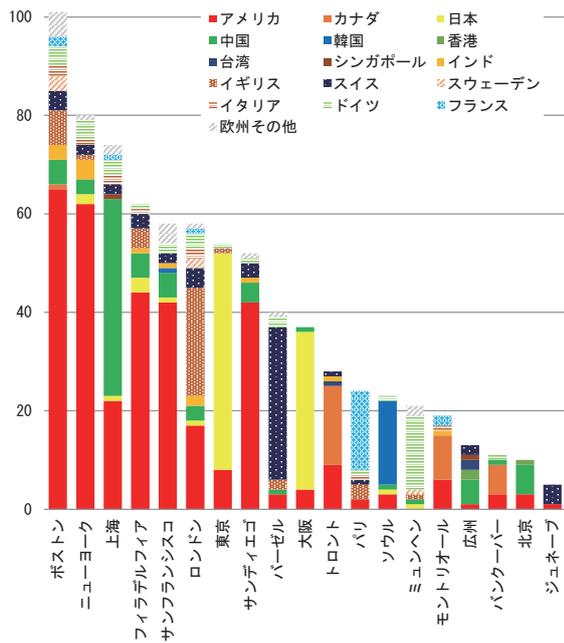
ントし、さらにその都市の国際化度合いを見るために、研究拠点数を本国籍毎に集計して示した（図11）。研究拠点数としてのカウントであり、規模の大小は問わず一拠点一カウントである。

研究拠点数が最も多かったのはボストンで、次いで東京、ニューヨーク、ロンドン、上海と続いた。各都市に研究拠点を持つ製薬企業の国籍を見ると、最もバラエティに富んでいたのはニューヨークの12か国、次いでボストンの11か国、上海が9か国と続いた。ロンドンも9か国だったが、自国の企業の研究拠点は少なく、それ以外のヨーロッパの国が半分弱、残りをアメリカと日本が占めていた。東京は6か国であったが大多数は日本の企業であり、あまり多くの国の製薬企業が入っているとは言えなかった。国別で見ると、日本は東京、大阪以外では、ボストン、サンディエゴなどに多くの研究拠点を有していた。

### 3-6. CDMO 拠点数

医薬品開発においては、臨床、非臨床データの集積とともに、製品製造に関する技術開発が重要である。特に近年のモダリティの多様化に伴い、

図12 CDMO 拠点数（本国籍別）



出所：CDMO Intelligence®（2025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）

医薬品企業が自社内で製造、技術開発する以外の選択肢としてCDMOとの協業が重要になってきている。特にEBPの場合、自社内で製造施設を有していることは稀で、近隣に事業所があるCDMOであれば技術面を中心により綿密なコミュニケーションをとれる委託先として検討候補に挙がってきやすいと考えられる。そこで本章では各都市のCDMO拠点数について調査した（図12）。

東京近郊に位置するCDMOの拠点数は、サンフランシスコ、ロンドンに次いで多く54箇所あった。東京の拠点のうち半数は開発品の製造受託可能であった。大阪近郊に位置するCDMOの拠点数は東京、サンディエゴ、バーゼルに次いで37箇所あった。

各都市に拠点を持つCDMO拠点を国籍別にみた場合、概して自国企業の拠点数が最大であり、CDMO拠点は自国内に有している場合が多かった。外国企業の拠点数が最も多い都市はボストンであった。

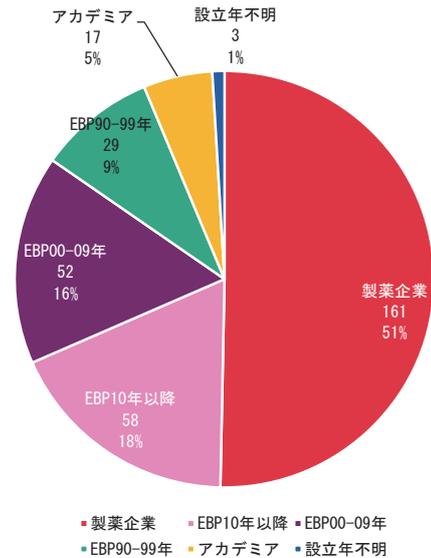
### 3-7. NME数

2020-2024年にいずれかの国で最初に承認されたすべてのNMEについて、オリジネーター企業・

機関を分類した（図13）。全体320品目のうち、製薬企業がオリジネーターとなっているNMEは、全体の51%を占めた。

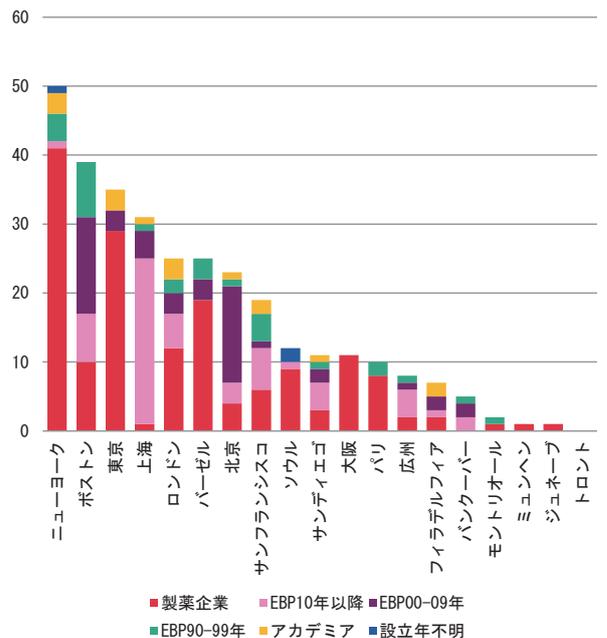
次に上記NMEに対して、都市圏別に分類した（図14）。最も多い都市圏はニューヨーク由来品で、次いでボストン、東京、上海と続いた。オリジネー

図13 2020-2024年に承認されたNME数（オリジネーター別）



出所：Evaluate Pharma®（2025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 2020-2024年に承認されたNME数（都市別）



出所：Evaluate Pharma®（2025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）

ターの内訳をみると、ニューヨーク、東京、バーゼル、大阪、パリで、製薬企業由来の割合が多い一方、中国各都市圏、ボストン、サンフランシスコ、サンディエゴで、EBP由来の割合が高かった。

#### 4. まとめ、考察

本稿では、創薬の担い手を全てカバーした上で世界の主要な集積地（都市圏）の創薬力を推し測る上での一助となるべく、創薬関連の研究開発プロダクトを有している製薬関連の、その中でもプロダクトを見いだしたオリジネーター企業・機関に着目し、その数、製薬企業の研究拠点数、開発品目数、ディール数、さらには創薬支援の指標の一つとしてのCDMO拠点数、そして最終アウトプットである承認されたNME数に着目して、都市圏別にカウントを行った。

その結果、各都市圏においてそれぞれ特徴があり、大きな分類では、製薬企業主導型、EBP主導型、どちらも活性化している総合型の3つに分類できる可能性が見えてきた。

製薬企業主導型都市圏の典型例としては、東京や大阪といった日本の各都市圏が見出された。これらを構成している企業をみると、大手の製薬企業に加えて中堅の製薬企業が多数存在し、またそれらが多数の開発品目、さらには承認品を生み出す構造となっていた。また最近でも、それらの製薬企業により生み出したプロダクトが、活発にディール対象になっていたことが分かった。東京では製薬企業由来の開発品目数が2番目に多くなっていた。その一方、どちらの都市圏も、EBPについてはあまり活性化されていない現状もあきらかになった。EBP数は2010年以降に設立されたものが、割合としては多いが数としては少なく、今回比較した都市圏の中で大阪は最少、東京も下から8番手であった。日本の各都市圏に加えて、パリやバーゼルといったヨーロッパの都市圏も、この型に分類されると考えられる。これらの都市圏にはメガファーマ本社があり、製薬企業数自体は多くはないが開発品目数は多く、東京や大阪と同様、オリジネーターとなるEBPの数もその品目数も多くはなかった。

EBP主導型都市圏の典型としては、ボストン、サンフランシスコ、サンディエゴといった、古くからよく知られたEBPの興亡が活発のところに加えて、近年では上海がその一角に割って入ってきたことが分かった。これらの都市圏ではEBPの数が非常に多く、数が多いために開発品目数も非常に多くなっている。それに伴いディール数も活発化しており、さらに創薬を支えるCDMO拠点数も多数存在しており、スタートアップエコシステムが非常に効果的に回転しているものと考えられる。

またこれらの都市圏には製薬企業の本社機能は少ないが、特にボストン、上海、サンフランシスコでは製薬企業の研究拠点は多数存在した。そしてこれらの都市に研究拠点を置く製薬企業の国籍が非常にバラエティに富んでいることから、国際化が進んでいるとみることができよう。逆に東京、大阪、ソウルは研究拠点こそ多いものの、ほとんどは自国企業であり、国際化という面では後れを取っている可能性がある。

製薬メーカーの本社拠点、研究拠点に加えて、EBPも活性化している総合型の都市圏としては、ニューヨークとロンドンがあげられた。どちらの都市圏も、メガファーマとそれ以外の多くの製薬メーカーの本社所在地であるとともに、EBPにおいても、ボストン、サンフランシスコに次ぐ規模の企業数を有していた。また研究拠点も数的に多く、企業国籍もバラエティに富んでいたことから、そちらの面でも国際化が進んでいることと料された。またこれらの都市圏由来品ではディールも活発で、創薬を支えるCDMO拠点も多く存在し、最終的な承認NME数も多かったことから、総合的に優れている都市圏と料した。

ソウルは都市圏企業数と開発品目数だけ見ると総合型に見える。オリジネーター企業数もオリジネーター品目も、製薬メーカーもEBPもある程度持っていた。またどちらも導出ディールを活発に実施していた。これらのことからドラッグディスカバリーを中心に据えた独特のポジションを築いているように見えた。近年、韓国では国を挙げてバイオ産業の活性化に取り組み、新興EBPのみな

らず既存の製薬中堅メーカーも支援していることから、今後の展開を注視する必要性を感じた。

それ以外の都市では、トロント、バンクーバー、モントリオール、北京、広州など、製薬企業の集積が限定的な地域ではEBP主導型に、ミュンヘン、ジュネーブのヨーロッパ都市は古くから製薬企業があり、これら由来の品目から製薬主導型都市に分類できるのではないかと思料した。

簡易的に、開発品目数、製薬企業数、EBP数、アカデミア数、ディール数、研究拠点数、CDMO拠点数、直近5年のNME創出数に対して、相関関係を解析した。開発品目数に着目すると、製薬企業数のみ有意ではなかったが、その他のパラメータでは有意な相関性があることが確認できた(表1)。

今回調査対象外となったが多くの創薬テーマを有するアメリカ各都市(シアトル、シカゴ、ダーラム、ロサンゼルス、ワシントンDCなど)、大手製薬メーカーが存在するドイツ各都市、さらに中堅以上の製薬メーカーが存在し独自の創薬エコシステムを有しているベルギーやデンマークなどの都市圏については今後の検討課題であろう。

近年、創薬は急速な技術革新とグローバル化の進展と創薬コストの増大により、従来の大手製薬メーカーが担っていた垂直統合型の一気通貫モデルから、多様なプレーヤーが相互に連携しあい、各プレーヤーがその強みを生かすことで各役割を果たす水平分業型モデルが広がってきている。ボストンやサンフランシスコではEBPの隆盛により、水平分業型創薬エコシステムサイクルが成功<sup>18、19)</sup>し、それを受けてこれを模倣する動きが世界で広がってきた。ただ、水平分業モデルにおいても、管理・調整に伴うコスト構造が複雑化しており、必ずしも全体コストの低減につながるとは限らず<sup>20)</sup>、一概に水平分業モデルのみが優れているとはいいがたい側面もある。今回の調査から、各都市圏における3つのタイプがありそうで、これらの特徴をいかにうまく生かすかが創薬力向上のカギになる可能性が思料された。

今回は実施しなかったが、得られた各種指標を用いて都市全体のランキングを付けることも可能であろう。今回の各指標をスコアすることで、局所的なランキングを創出することもできる。そして、さらなる究極的な都市別創薬エコシステムラ

表1 相関関係表 (Pearson 相関)

	開発品目数	製薬企業数	EBP数	アカデミア数	ディール数	研究拠点数	CDMO拠点数	NME数
開発品目数	1.0000							
製薬企業数	0.5138	1.0000						
EBP数	0.8691*	0.2518	1.0000					
アカデミア数	0.7115*	0.6879*	0.5983	1.0000				
ディール数	0.9236*	0.5826	0.7415*	0.6084	1.0000			
研究拠点数	0.8428*	0.6509	0.7465*	0.7721*	0.8658*	1.0000		
CDMO拠点数	0.8285*	0.4217	0.7833*	0.7051*	0.8521*	0.8510*	1.0000	
NME数	0.8367*	0.5791	0.5633	0.7032*	0.8617*	0.8556*	0.7507*	1.0000

\* p < 0.05、Bonferroni 調節

出所：Evaluate Pharma<sup>®</sup> (2025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)

18) CRDS調査報告書、イノベーションエコシステム 調査創薬のオープンイノベーションの潮流、2023 : <https://www.jst.go.jp/crds/pdf/2023/RR/CRDS-FY2023-RR-05.pdf> (参照 : 2026/1/5)

19) Xue Wu et al. Collaborative innovation during the drug discovery and development process. Drug Discov. Today 2025 Jul ; 30 (7) : 104409

20) Williams Olughu. Challenges And Opportunities Of Outsourcing Biopharma Development (2025) : <https://www.bioprocessonline.com/doc/challenges-and-opportunities-of-outsourcing-biopharma-development-0001> (参照 : 2026/1/5)

ンキングについては、今回調査した指標からだけで測れるものではないことは勿論である。今回の指標に加えて、創薬関連論文数やその被引用数、特許数、研究資金、博士・研究者数、ポスドク数、企業従業員数、ベンチャーキャピタルからの投資額や公的研究助成額、治験可能拠点数、行政薬事、製造能力、これまでの承認数、その国の制度、さらには人口や経済活動指標など、広範にインプットおよびアウトプット指標を算出し、それらを重みづけしたのちスコア化し、さらに圏内の人口や面積で標準化することでランキング化<sup>17)</sup> すること

が必要であろう。

#### 最後に

今回各種指標のランキング結果から都市をいくつかのタイプに分けて、どこにカテゴライズされるのかを検討した。このことによって、各都市の集積性の特徴をあぶりだすとともに、東京や大阪といった各日本の都市の目指すべき方向性とその課題をあぶりだす一端を担えれば幸いである。

## 日本先行承認された新医薬品の特徴と関連要因についての調査 — 薬価算定・海外状況の観点から —

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うち日本先行承認された新有効成分含有医薬品について、薬価算定等の観点での特徴と2025年12月時点における海外での承認・開発状況を調査した。
- 昨年実施した調査以降に収載された38品目も含めた325品目（初承認国の記載がなかった1品目を除く）について調査したところ、日本先行承認は77品目、海外先行承認は248品目であった。
- 日本先行承認の66%（51品目）は調査時点で同一成分が海外のいずれかで承認済みであり、海外先行承認と合わせると2018年度以降に収載された新有効成分含有医薬品の92%（299品目）は2025年12月時点で海外承認済みであった。一方、海外での開発情報もないものは4%（12品目）にとどまっていた。
- 日本先行承認（6か月超）、ほぼ同時承認、海外先行承認（6か月超）の3つに分類し、承認順に関連する因子を分析したところ、日本先行承認（6か月超）の確率に影響する要因としては製薬企業の海外売上比率、ピーク時予測投与患者数（20人未満）、ピーク時市場規模予測、米国

の Breakthrough Therapy の指定等があった。ほぼ同時承認の確率に影響する要因としては、ピーク時予測投与患者数（20人未満）、ピーク時市場規模予測、国際共同治験等があった。

### 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<sup>1) 2)</sup>。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<sup>3)</sup>や、先駆加算、迅速導入加算等の薬価制度<sup>4)</sup>が挙げられる。

一方、日本への上市順に関連し、日本でのみ承認される医薬品としてカントリードラッグ／ローカルドラッグ（以下、ローカルドラッグ）についても、以前より議論されてきた。特に近年の議論は、調査目的や定義の異なる複数の文献により様々な形で提示されている。以下、2020年以降の議論を一部例として示す。

- 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) 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－2021年承認実績と日本市場のグローバル化の現状－」、政策研ニュース No.65（2022年3月）
- 3) 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：2026/01/16）
- 4) 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：2026/01/16）

2022年の政策研ニュース No.65では、医薬品のグローバル化の現状把握を目的として、ローカルドラッグの割合が調査された<sup>2)</sup>。当時の調査では、欧米で未承認の新有効成分含有医薬品をローカルドラッグとし、2010～2014年に32%だったものが2017～2021年では24%に減少したことから、グローバル化が進展したと結論付けている。

続いて2023年のJRIレビューVol.8. No.111は、薬剤給付のメリハリを主張する論旨の一つとしてローカルドラッグに触れている<sup>5)</sup>。具体的には、「2010～2019年の新有効成分含有医薬品の承認数が米国より日本で多い」、「ドラッグ・ラグ/ロスが生じている」の2点を根拠に「要は、海外で通用しない新薬が多く承認されている」とされた。これは、調査対象・目的の異なる2報の結果<sup>6)</sup>を踏まえた議論で、承認数を中心とした整理となっている<sup>7)、8)</sup>。しかし、各国の承認数は時期によって変化しており、2014～2023年、2015～2024年では、日本より米国で多くなっている<sup>9)、10)</sup>。

2024年の財政制度等審議会の資料では、上記文献の一部分の引用に加え、米国およびOECD加盟26か国で上市された新薬の米国での入手可能性を調査した文献<sup>11)</sup>を引用している<sup>12)</sup>。それによると、「2018～2022年に日本で販売された新薬のうち、2022年末までに米国で販売されていない新薬は39%も」あり、「顕著な例外」としている。ただし、引用元の調査対象はこれまでの2報<sup>2)、5)</sup>と異なり、新有効成分含有医薬品以外も含むすべての

新薬である。また、欧州含むその他の国での状況を考慮していないため、日本先行承認された品目かどうか不明である。さらに、資料中では医薬品の対象疾患等に触れないまま、ローカルドラッグが「新規性の乏しい海外で通用しない新薬」と示唆するかのよう表現が見られた。

そして、2024年の白岩らの文献では、「日本の承認品目のうち、欧米で薬事承認されていないもの」をローカルドラッグとして調査し、2017～2023年承認の新有効成分含有医薬品では19%であったと報告している<sup>13)</sup>。定義の近い政策研ニュースNo.65において示された結果(2010～2014年に32%、2017～2021年に24%)を踏まえると、調査設計の違いに留意は必要なものの、年代の進展とともに「ローカルドラッグ」の割合がさらに低下しグローバル化が進展した可能性も考えられ、両者の結果には大きな矛盾はないように見える。

こうした状況を踏まえ、政策研ニュース No.74では、日本先行医薬品について、欧米以外の国も含めた海外状況を調査し、日本でしか承認されていない品目の数を整理した。さらに、それらの医薬品について新薬創出・適応外薬解消等促進加算(以下、新薬創出等加算)への該当性や、対象疾患が日本特有かどうか等を検討した結果、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、「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

- 5) 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：2026/01/16)
- 6) 政策研ニュースNo.62は調査対象が「2010～2019年に承認された新有効成分含有医薬品」、目的は「日米欧の承認品目の創出企業の国籍の調査」であり、政策研ニュース No.68は調査対象が「2021年度の売上高上位300品目」、目的は「日米欧での上市状況・時期」である。
- 7) 医薬産業政策研究所、「日米欧 NME 承認品目の創出企業の国籍－2010～2019年の承認品目を中心に－」、政策研ニュース No.62 (2021年3月)
- 8) 医薬産業政策研究所、「医薬品世界売上高上位300製品の上市状況の日米欧比較」、政策研ニュース No.68 (2023年3月)
- 9) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況の比較 (2023年)」、政策研ニュース No.73 (2024年11月)
- 10) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況の比較 (2024年)」、政策研ニュース No.76 (2025年11月)
- 11) Mulcahy, Andrew W., RAND Corporation, RR-A788-4, 2024. As of April 3, 2024
- 12) 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](https://www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/proceedings/material/zaiseia20240416/01.pdf) (参照：2026/01/16)
- 13) 白岩 健、「「開発され過ぎる」問題と「されなさ過ぎる」問題：あるいはローカルドラッグとドラッグ・ラグに関する研究」、医療経済研究 Vol.36, No.2, 2024、[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jjhep/36/2/36\\_2024.10/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/jjhep/36/2/36_2024.10/_pdf/-char/ja) (参照：2026/01/06)

判断には直結しないことを示唆した<sup>14)</sup>。

本稿では前回調査に引き続き、前半で、2025年11月までに記載された新有効成分含有医薬品を算定方式に関わらず追加的に調査した。その結果、ローカルドラッグは数として限定的であることを改めて確認するとともに、医薬品の中身を踏まえた考察を行い、承認順のみでは医薬品の有用性を一義的に評価できないことも再度示した。以上の結果を踏まえ、承認順に関わらず日本への早期アクセスを促す環境整備が重要であるとの認識から、本稿後半では、日本先行（6か月超）、ほぼ同時承認、海外先行（6か月超）といった承認順に関連する要因についても検討を行った。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新規記載された際の中央社会保険医療協議会（以降、中医協）資料<sup>15)</sup>に記載された初承認国の情報に基づいて判断した。

## 2. 調査方法

本稿の調査対象は、2018年4月から2025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とした。

### 算定状況関連の調査

初承認国、算定方式、ピーク時予測投与患者数、ピーク時市場規模予測、製造販売業者（以下、本稿では「製薬企業」と記載する）、新薬創出等加算や先駆加算（先駆け審査指定制度加算も含む）への該当有無を中医協資料の「新医薬品一覧表」や「新医薬品の薬価算定について」<sup>15)</sup>、薬価改定時の資料<sup>16)</sup>等から取得した。同一成分かつ同一投与形態（内用・注射・外用）のものは1品目として分析し、初承認国の記載がなかった1品目は解析か

ら除外した。

なお、本稿で扱う患者数および市場規模は、中医協資料に記載された数値に基づく。すなわち、製薬企業が予測した新規記載医薬品の投与患者数および市場規模であり、いずれも国内におけるピーク時（1年間）の数値である。

### 海外状況関連の調査

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（2025年12月時点）。同一効能・同一製剤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、海外での開発情報は効能、製剤等での区別はしなかった。なお、海外での開発情報はPhase 1以上の臨床試験を実施中のもののみ集計したため、開発中止、続報なし（明日の新薬で開発継続に関する情報が確認できないと判断されたもの）、前臨床段階等のものは「開発情報無し」に含めた。

日本先行、海外先行の2つに分類する場合は、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、日米同時承認の1品目は日本先行に含めた。また、日本先行（6か月超）、ほぼ同時承認、海外先行（6か月超）の3つに分類する場合は、それぞれ、海外より6か月超早く日本で承認されたもの、日本と海外での承認年月の差が6か月以内のもの、日本より海外で6か月超早く承認されたものとした。なお、本稿では日本と海外の承認時期を月単位で調査し、その差を計算した。したがって、日本と海外の承認日が実際は数日違いであっても月が異なっていた場合は1か月の差として、日本と海外で3週間程度の差

14) 医薬産業政策研究所、「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－」、政策研ニュース No.74（2025年3月）

15) 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](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128154.html)（参照：2026/01/16）

16) 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](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000188411_00026.html)（参照：2026/01/16）

があった場合でも同じ月であれば0カ月(差なし)として集計したことになる。一般に承認申請の「同時申請」は、先駆的医薬品指定制度における「同時申請」の定義<sup>17)</sup>等からもわかる通り、3か月以内と解釈されることが多い。しかし本稿では、厳密な同時承認ではなく、新薬アクセスが世界と概ね同時期であったかどうか、という観点を重視した。そこで、薬価制度において6か月以内の遅れであれば日本への迅速導入と評価されている点を踏まえ、6か月以内の承認を「ほぼ同時承認」と定義した。

#### 製薬企業関連の調査

製薬企業の内資系・外資系については、2025年11月時点の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。海外売上比率は、売上高全体のうち日本以外の地域での売上高の比率と定義し、2023年度の数値で比率を計算した。日本で設立され日本に本社がある企業(内資系企業+外資系企業3社<sup>18)</sup>)について有価証券報告書等<sup>19)</sup>の開示情報に基づき算出し、情報が得られない場合には25%未満と仮定した。一方、外資系企業のうち海外/多国籍企業の日本法人等については、企業グループ全体の事業実態を踏まえ、75%以上と仮定した。なお、本稿の調査対象期間である2018年4月~2025年11月の間、各社の海外売上比率には増減があるが、分析の都合上、2023年度のデータに基づき4つのグループに分類した。期間中の変動は分析に組み込んでいないが、2023年度以外のデータに基づいた場合でも、売上比率の順位が入れ替わる企業はごく一部にとどまることを確認している。

#### その他の調査

国際共同治験の実施状況については、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下、PMDA)の審査報告書等の情報をもとに日本製薬工業協会

医薬品評価委員会がまとめた「承認取得品目データベース」<sup>20)</sup>を活用し、情報を紐づけた。具体的には、日本での承認申請時に国際共同治験のデータが評価資料として提出された品目を「日本を含む国際共同治験あり」とし、上記データベースに記載がない品目は、PMDAホームページ上の各品目の審査報告書で別途調査した。

米国の指定制度 Breakthrough Therapy への該当性について、明日の新薬(テクノミック制作)やU.S. Food and Drug Administration(以下、FDA)ホームページ内の情報をもとに集計した。なお、2026年1月時点で明日の新薬(テクノミック制作)に記載のある品目を集計したため、日本で新有効成分含有医薬品として承認された効能とは別効能での指定も含めて調査している。

#### 留意事項

「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含むため、中医協資料に基づいて判断した。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」の分析はあくまでも中医協資料の定義により調査・分析するものである。また、海外承認状況についても、今回の調査時点(2025年12月)での一律の状況であり、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。

次に、分析の切り口を2-1から2-2で示す。

#### 2-1. 薬価算定状況・海外状況

新有効成分含有医薬品を日本先行承認と海外先行承認に分類し、各算定方式への該当割合を調査した。また、日本先行承認品目の2025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

17) 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\\_iryuu/iyakuhin/tp150514-01\\_00001.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iyakuhin/tp150514-01_00001.html)(参照：2026/01/16)

18) 中外製薬株式会社、日本メジフィジックス株式会社、田辺ファーマ株式会社は2025年11月時点で外資と判断したが、日本で設立され日本に本社がある企業として、内資と同様に海外売上比率の調査を行った

19) 日本製薬工業協会発行「DATABOOK2025」に記載のデータを用い、記載がない会社は各社有価証券報告書から2023年度の数値を用いた

20) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会、「承認取得品目データベース」<https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/shouninhinmoku.html>(参照：2025/12/20)

し、新有効成分含有医薬品のうち日本でしか承認されていない医薬品の割合を調査した。

## 2-2. 承認順（日本先行／同時承認／海外先行）に影響を及ぼす要因分析

海外に比べて日本での承認時期が6か月超早いものを「日本先行承認（6か月超）」、日本と海外の承認月が6か月以内のものを「ほぼ同時承認」、日本に比べて海外の承認時期が6か月超早いものを「海外先行承認（6か月超）」とし、こうした承認順に影響を及ぼす要因分析を行った。製薬企業の特徴（内資・外資、海外売上比率）や、対象疾患の特徴（ピーク時予測投与患者数、ピーク時市場規模予測）、品目の特徴（国際共同治験の有無、原価計算方式かつ新薬創出等加算や米国 Break-through Therapy への該当性）等について、影響の有無と因子間の影響度の比較について統計手法による推定を実施した。

## 3. 結果

### 3-1. 薬価算定状況・海外状況

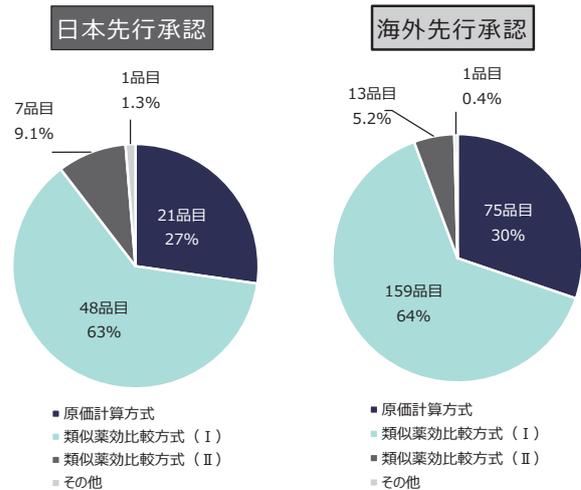
#### ① 算定方式

昨年の調査以降に記載された38品目も含め、2018～2025年度（2025年度は4月、5月、7月、8月、10月、11月の6回分）に記載された新有効成分含有医薬品325品目（初承認国の記載がなかった1品目を除く）について調査したところ、日本先行承認は77品目、海外先行承認は248品目であった。薬価算定方式の内訳は、原価計算方式が約3割（日本先行、海外先行における割合は各27%、30%）、類似薬効比較方式(I)が約6割（各63%、64%）、類似薬効比較方式(II)および特例が合計約1割（各9.1%、5.2%および各1.3%、0.4%）であった（図1）。以上より、前回調査同様、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。

#### ② 海外での承認・開発状況

海外状況としては、2025年12月時点で同一の効能・製剤で海外のいずれかで承認されているものは51%（39品目／77品目）、別効能・別製剤等も含

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（新有効成分含有医薬品）

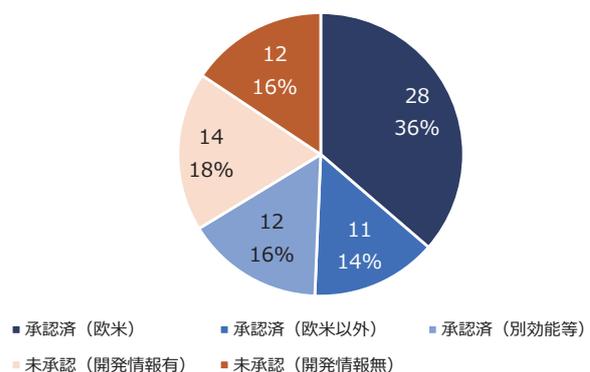


注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とし、日米同時承認の1品目は日本先行として分類した

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として集計した  
出所：2018年4月～2025年11月に記載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料をもとに医薬産業政策研究所が作成

めて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66%（51品目／77品目）、未承認だが開発情報があるものも含めると84%（65品目／77品目）に上った（図2）。算定方式別の海外状況については補足1にまとめた。

図2 日本先行承認品目（新有効成分含有医薬品）の海外承認・開発状況（2025年12月時点）



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、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品目として集計した  
出所：2018年4月～2025年11月に記載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、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

③ 日本でのみ承認されている新有効成分含有医薬品の割合

図2の情報をもとに、2018～2025年度（11月）に日本で収載された新有効成分含有医薬品の海外承認状況を図3にまとめた。その結果、新有効成分含有医薬品の92%（299品目／325品目）が2025年12月時点で海外承認済みであり、さらに海外での開発情報がある14品目を含めると96%にのぼり、本稿調査時点において日本でのみ開発されているものは4%（12品目）に過ぎなかった。この12品目中5品目は収載時に有用性系加算が認められる等により、新薬創出等加算に該当していた（図なし）<sup>21)</sup>。また、世界には患者数が少なく日本人に患者数が多い疾患の治療薬や、先駆け審査指定制度の指定品目、未承認薬検討会議で開発公募された品目、希少疾病用医薬品、小児用の医薬品等、国内固有のニーズに対応する医薬品を複数含んでいた。

なお、海外で別効能・別製剤での承認があった

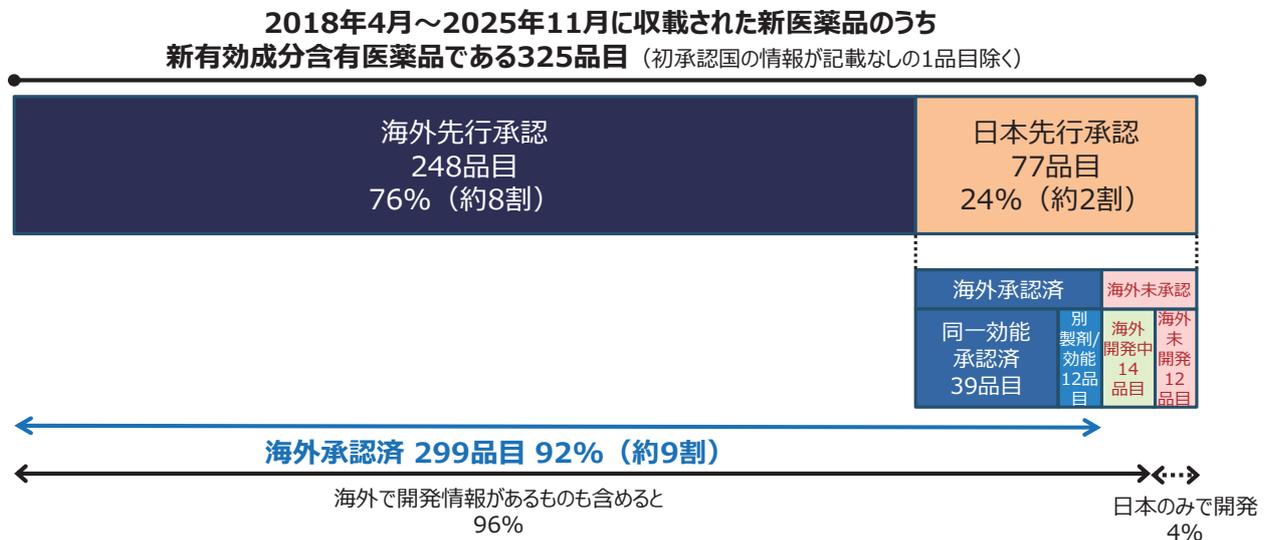
12品目の内訳は、規格／製剤別3品目、何らかの類似性がある疾患7品目、別疾患2品目であった。これらの中にも、世界には患者数が少なく日本人に患者数が多い疾患の治療薬や、未承認薬検討会議で開発公募された品目又は要望書の提出がされた経緯のある品目等、国内固有のニーズに対応する医薬品を含んでいた。

算定方式別の海外状況については補足1に、日本先行承認品目の海外状況を欧米別に集計したものについては補足2にまとめた。

④ 年次推移

次に、日本先行承認の割合について年次推移を確認した。2023年以降では、日本先行品目は1～2割と少なく、さらに海外での開発情報もない品目は1割未満となっていた（図4a）。一方、海外の承認から6か月以内に日本で承認を取得しているような「ほぼ同時承認」を含めると2～3割、1年以内まで含めると3～5割であり、近年も一

図3 日本で収載された新有効成分含有医薬品の海外承認状況（2025年12月時点）



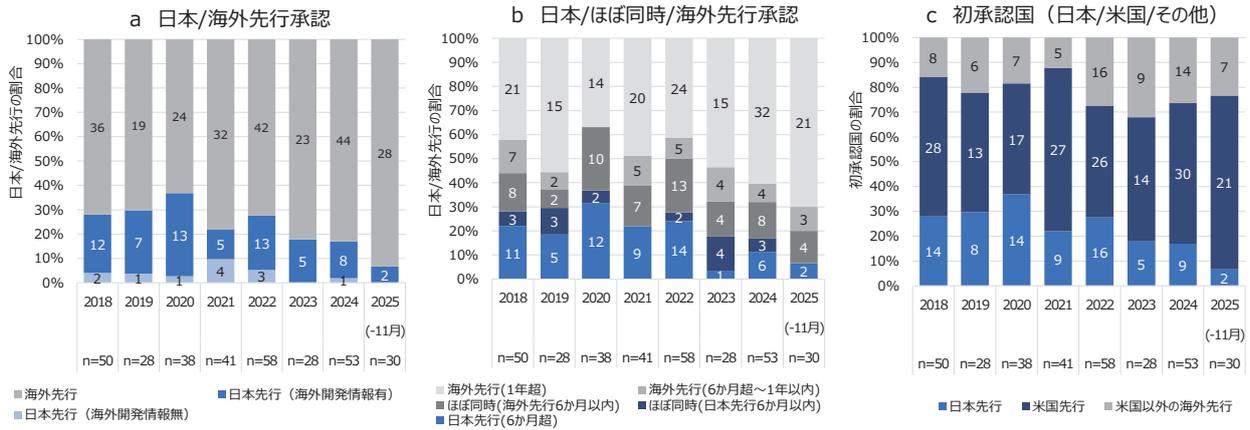
注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とし、日米同時承認の1品目は日本先行として分類した

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中医協総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した

出所：2018年4月～2025年11月に収載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、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

21) 収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月収載以降に記載されるようになったため、No.74同様、中医協資料に加え、2018年4月、5月収載品目については2019年度薬価改定時の新薬創出等加算品目のリストから該当性を判断した。

図4 日本で記載された新有効成分含有医薬品の承認順別の年次推移



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、日米同時承認の1品目は日本先行とした  
 注2：グラフ内の数値は該当品目数を示し、同一成分かつ同一投与形態は1品目として集計した  
 出所：2018年4月～2025年11月に記載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、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

定の割合を占めていた（図4b）。なお、2025年度については11月までの状況であるため、年度を通した傾向は今後の動向を確認する必要がある。

また、海外先行承認された品目の初承認国を見ると、年度によってばらつきはあるものの、海外先行承認品目のうち約7割（新有効成分含有医薬品の約5割）が米国で初承認されていた（図4c）。

3-2. 承認順に影響を及ぼす要因分析

① 多項ロジスティック回帰分析の枠組みおよび説明変数

次に、承認順に関連する要因を検討した。「日本先行承認（6か月超）」、「ほぼ同時承認」、「海外先行承認（6か月超）」に分類し、こうした承認順に関連する因子の有無や因子間の影響度の比較について統計手法による推定を実施した（表1、補足3）。

表1 承認順に影響を及ぼす要因分析

基準	影響因子	n	多項ロジスティック回帰分析		限界効果		
			承認順 [海外先行(6か月超)がベース]		承認順		
			日本先行 [6か月超]	ほぼ同時承認 [6か月以内]	日本先行 [6か月超]	ほぼ同時承認 [6か月以内]	海外先行 [6か月超]
外資 n=191	内資（ダミー）	n=134	0.667	-0.180	0.077	-0.036	-0.041
海外売上25%未満 (不明の国内企業含む) n=62	海外売上25～50%	n=31	-0.773	0.255	-0.076	0.045	0.031
	海外売上50～75%	n=30	-0.726	0.539	-0.075*	0.082	-0.007
	海外売上75%以上（外資含む）	n=202	-1.876***	0.120	-0.231***	0.059	0.172
—	ピーク時投与患者数 [自然対数]		0.148	-0.097	0.017*	-0.015	-0.002
20人以上 n=315	投与患者数20人未満 (ウルトラオーファンダミー)	n=10	-13.122***	2.408**	-0.188***	0.383***	-0.195
—	ピーク時市場規模予測 [自然対数]		-0.132	0.688***	-0.025**	0.089***	-0.064***
無 n=161	国際共同治験	n=164	0.259	2.207***	-0.013	0.262***	-0.250***
非該当 n=248	原価計算方式かつ新薬創出等加算	n=77	-0.675	0.070	-0.067	0.019	0.048
指定無 n=232	米国 Breakthrough Therapy	n=93	-1.532**	-0.550	-0.130***	-0.050	0.180***
	観測数		n=60	n=73	n=60	n=73	n=192

注1：日本先行承認（承認時期の差が6か月超）、ほぼ同時承認（承認時期の差が6か月以内）、海外先行承認（承認時期の差が6か月超）に分類した  
 注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中医協総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した  
 注3：\*P<0.1、\*\*P<0.05、\*\*\*P<0.01  
 注4：平均限界効果は、各説明変数が1単位変化（ダミー変数の場合は0→1）したときに、承認順が各カテゴリとなる確率の平均的な変化量を示す  
 出所：2018年4月～2025年11月に記載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、インタビューフォーム、各社ホームページ、明日の新薬（テクノミック制作）、PMDA、FDA、EMAの各公開情報、日本製薬工業協会「承認取得品目データベース」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

承認順は、製薬企業が臨床試験や販売のために活用できる内外の既存資産の規模そして企業の株主構造等によって影響される側面を有すると考えられる一方で、対象疾患の特性や品目固有の要素によっても左右されると想定される。そこで本分析では、承認順に影響を及ぼし得る要因を、①製薬企業の特徴、②対象疾患の特徴、③品目の特徴の3つに大別して検討した。

具体的には、製薬企業の特徴として、資本（内資／外資のダミー変数）および海外売上比率（4区分のダミー変数）が承認順に関連する可能性を考えた。対象疾患の特徴としては、ピーク時予測投与患者数、およびピーク時市場規模予測を用いた。さらに、患者数が極めて少ない場合は特殊な判断がされると想定し、予測投与患者数に基づくウルトラオーファンへの該当性（ダミー変数）も検討に用いた。品目の特徴としては、日本を含む国際共同治験の有無（ダミー変数）や、原価計算方式かつ新薬創出等加算の対象であること（革新性を表すと仮定したダミー変数）が承認順に関係する可能性を想定した。また、図4cの通り、海外先行承認された品目の約7割が米国で初めて承認されていたことから、米国の薬事上特別措置の影響も考慮し、米国におけるBreakthrough Therapy 指定の有無についても説明変数として加えた。

なお、ばらつきが大きいと考えられる「ピーク時予測投与患者数」「ピーク時市場規模予測」は対数変換を行い分析した。ウルトラオーファンへの該当性は、10人単位で承認順の分布傾向を確認した上で、もっとも特殊に見える20人未満を採用した（補足4）。

革新性を表すダミーとして、本稿では原価計算方式かつ新薬創出等加算の指標を用いた。これに該当する医薬品は、類似薬がなく、有用性もしくはアンメットニーズに応えると判断された医薬品と考えられるため、一定程度の革新性があるだろうと判断したからである。

なお、本稿では、有用性系加算と先駆的医薬品への該当性は説明変数として採用しなかった。まず、有用性系加算については、革新性の指標となり得るものの、有用性系加算の一部の要件は海外での評価情報（臨床試験データやガイドラインへの採用有無等）が充実している方が該当しやすいと考えられる項目<sup>22)</sup>もある。内生性の懸念が強いと判断し、今回は指標として用いなかった。

次に、先駆け審査指定制度／先駆的医薬品については、承認順に大きな影響を及ぼす制度と考えられる。しかし、要件に「世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）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（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）」があり、承認順の結果が制度的に決定されてしまう可能性が高いことから、今回の説明変数としては除外した。

各変数の特徴は補足4および補足5にまとめた。

## ② 多項ロジスティック回帰分析の結果

325品目のデータを用いて、日本先行承認（6か月超）、ほぼ同時承認、海外先行承認（6か月超）を被説明変数とする多項ロジスティック回帰分析を実施した（表1、補足3、海外先行承認（6か月超）を基準として実施）。日本先行承認（6か月超）については、「製薬企業の海外売上比率が75%以上（外資含む）」、「ピーク時予測投与患者数が20人未満の場合（ウルトラオーファンダミー）」、および「米国 Breakthrough Therapy の指定」の3因子が、海外先行承認（6か月超）に比べて日本先行（6か月超）となる傾向を低下させる因子として統計的に有意であった（ $P < 0.01$ 、 $P < 0.01$ 、 $P = 0.026$ ）（表1、補足3）。

ほぼ同時承認については、「ピーク時予測投与患者数が20人未満の場合（ウルトラオーファンダミー）」、「ピーク時市場規模予測の増加」と「国際共同治験の実施」が、ほぼ同時承認の傾向を高め

22) 医薬産業政策研究所、「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－」、政策研ニュース No.73（2024年11月）

る因子として統計的に有意であった（ $P = 0.011$ 、 $P < 0.01$ 、 $P < 0.01$ ）。

一方、「製薬企業が内資系であること」および「原価計算方式かつ新薬創出等加算の対象品目」については、いずれの承認順にも有意な影響は認められなかった。

次に、各説明変数の平均限界効果を見ると、ピーク時予測投与患者数が1%増加すると、日本先行（6か月超）となる確率が約1.7ポイント高くなることと推定された（ $P = 0.070$ ）。海外売上比率50%以上75%未満の企業と海外売上比率75%以上の企業（外資含む）は、海外売上比率25%未満の企業（不明の国内企業も含む）に比べ、日本先行（6か月超）となる確率が平均でそれぞれ約7.5ポイント、23.1ポイント低下した（ $P = 0.083$ 、 $P < 0.01$ ）。ピーク時予測投与患者数20人未満のウルトラオーファンと思われる疾患が対象の場合は、日本先行（6か月超）となる確率が約18.8ポイント低下し、ほぼ同時承認となる確率は38.3ポイント上昇した。ピーク時市場規模の予測が1%増加すると、6か月超の日本先行や海外先行となる確率はそれぞれ約2.5ポイント、6.4ポイント低下し、ほぼ同時承認となる確率が8.9ポイント上昇すると推定された。米国 Breakthrough Therapy 指定のある品目は、日本先行（6か月超）の確率が約13.0ポイント低下し、海外先行（6か月超）確率が約18.0ポイント上昇した。承認時の評価資料に国際共同治験を含む場合、ほぼ同時承認確率が約26ポイント上昇し、海外先行承認確率は約25ポイント低下すると推定された。

内資系企業および原価計算方式かつ新薬創出等加算品目については、限界効果でも統計的に有意な影響は認められなかった。

続いて、各要因の重要性を考察する目的で、今回用いた説明変数のうち、ダミー変数でない2因子「ピーク時予測投与患者数」と「ピーク時市場規模予測」について、平均限界効果と標準偏差を乗じることで、1標準偏差の変化に対応する効果を確認した。その結果、1標準偏差分増加した時の日本先行（6か月超）の確率への影響は、「ピーク時予測投与患者数」は約4.9ポイントの上昇（限

界効果1.71×標準偏差2.861）、「ピーク時市場規模予測」は約4.3ポイントの低下（限界効果-2.53×標準偏差1.695）となった。

この結果から、両者が有する逆向きの効果は規模としてはほぼ同程度である可能性が示唆された。各医薬品の薬価の影響もあることから一概には言えないが、投与患者数の増加に伴い市場規模も増加する可能性は十分に考えられ、これら2要因は現実的な変動幅では相殺される場合もあると考えられた。

さらに、市場規模予測が1標準偏差分増加することにより、ほぼ同時承認の確率が約15.2ポイント増加（限界効果8.94×標準偏差1.695）し、海外先行確率が約10.9ポイント減少（限界効果-6.41×標準偏差1.695）となった。国際共同治験を実施（ダミー変数）の場合はほぼ同時承認の確率が約26.2ポイント上昇、海外先行確率が約25.0ポイント低下と推定されていることを踏まえると、影響の度合いとしては市場規模予測より国際共同治験の有無の方が大きい可能性が示唆された。

なお、「海外売上比率50%以上75%未満の企業」と「ピーク時予測投与患者数」「ピーク時市場規模予測」の日本先行（6か月超）確率への影響については平均限界効果でのみ有意差が出ていること、さらに一部は有意水準10%での結果であること等から、効果自体が比較的弱い、もしくは不安定な推計である可能性もある。

各説明変数間における多重共線性の有無に関する参考情報として、相関係数および分散拡大係数（Variance Inflation Factor: VIF）を算出した。その結果、相関係数の絶対値は1項目において0.725であったが、その他はいずれも0.5未満であり、VIFはいずれの説明変数においても3.5未満であった（補足6）。

#### 4. まとめ・考察

本稿では2018年4月から2025年11月までに収載された新有効成分含有医薬品325品目（初承認国の記載がなかった1品目を除く）について、日本先行承認品目の特徴と関連要因を、薬価算定状況や海外状況の観点等から調査した。

#### 4-1. 日本先行承認品目の算定状況・海外状況

まず、前回調査同様、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）。

海外の承認状況については、一律に2025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まれているため、過小評価となる可能性はあるものの、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日本先行のうち66%、承認には至っていないがアクティブな開発情報が確認されるものも含めると84%であった（図2）。また、海外先行承認の品目を含めると海外承認済みのものは92%となることから、日本でのみ承認されている医薬品は新有効成分含有医薬品全体のうち8%にとどまることがわかった（図3）。

本稿冒頭でも整理した通り、日本でのみ承認されている医薬品をローカルドラッグとし、海外で通用しない、重要性の低い医薬品であるかのように扱われることや、日本ではそうしたローカルドラッグが海外に比べて多いとの指摘がされる場合がある<sup>5、12、13</sup>。繰り返しになるが、こうした指摘の多くは、分析対象が新有効成分以外も含む新薬全体であったり、ローカルドラッグかどうかを米国での承認のみに基づいて判断していたりと、定義や調査方法が一様ではなく、単純な比較が難しい。

しかし、本稿での分析結果を踏まえれば、過去8年間に日本で薬価収載された新有効成分含有医薬品に関しては、現時点で日本でのみ承認されているものは8%、さらに海外での開発情報も確認されない「完全なローカルドラッグ」は4%と、いずれも非常に限定的であることが示された。加えて、海外での開発情報が確認されなかった12品目のうち、約半数（5品目）は薬価収載時に有用性等が認められ、新薬創出等加算に該当していた。また、海外では患者数が少ない一方で、日本国内で患者数が多い疾患の治療薬や、先駆け審査指定

制度の指定品目、未承認薬検討会議で開発公募された品目、希少疾病用医薬品、小児用の用法用量を含む医薬品等、国内ニーズに対応すると考えられる医薬品が複数含まれていた。特に、海外で患者数が少ない疾患の治療薬は、患者ニーズに応える重要な医薬品であっても、開発が日本でのみ行われ、結果としてローカルドラッグとなり得ると考えられる。

以上を踏まえると、「日本でのみ承認されている医薬品」は数自体が少なく、またこの状況だけで「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」と判断することは適切でない。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が、今後の日本における良好な新薬アクセスの確保にとって重要と考えられる。

#### 4-2. 承認順に影響を及ぼす要因

次に、日本先行承認（6か月超）、同時承認、海外先行承認（6か月超）の承認順に影響を及ぼす因子について検討した。過去にも医薬品承認に関する統計的解析が行われ、医薬産業政策研究所ではドラッグ・ラグやドラッグ・ロスの状況とその傾向を整理してきた<sup>23、24</sup>。また、白岩らは、ローカルドラッグを「日本で承認され欧米で薬事承認のないもの」と定義し、ローカルドラッグやドラッグ・ラグの国際比較を通じて、日本の医薬品アクセスの実態を定量的に明らかにしている<sup>13</sup>。これらとは分析の前提や条件は異なるが、本稿でも承認順に影響を及ぼす要因を検討するため、複数の要因を同時に考慮した多項ロジスティック回帰分析を行った。

##### ① 製薬企業について

製薬企業については内資／外資で有意な差は認められなかった。一方、海外売上比率が高い企業では、日本先行承認（6か月超）となる確率が低下する傾向があった。これらの結果から、内資／

23) 医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ：日本承認品の長期ラグの要因分析」、政策研ニュース No.71（2024年3月）

24) 医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ／ロスの実態把握と要因分析」、ポジションペーパー（2024年3月）

外資の違い以上に、海外での開発・販売基盤の有無が、同時承認や海外先行承認の検討しやすさに影響していると考えられる。

## ② 対象疾患について

対象疾患では、ピーク時予測投与患者数が増加すると日本先行（6か月超）の確率が上昇する傾向が示唆された。国内において新薬の投与が見込まれる患者数が多いほど日本先行の開発戦略がとられやすいという点では、妥当な結果とも考えられる。一方で、本結果は有意水準10%で得られたものであり、さらには結果で示した通り、1標準偏差あたりの効果を考慮すると、市場規模による承認順への影響と相殺される場合も想定される。したがって、ピーク時予測投与患者数が承認順に与える実質的な影響については、慎重な解釈が必要である。

また、ウルトラオーファンに関するダミー変数（ピーク時予測投与患者数が20人未満）では、20人以上に比べて日本先行（6か月超）の確率が低下し、ほぼ同時承認の確率が上昇することが示唆された。例数が非常に少ないため推定値が不安定な可能性もあるが、国内で患者数が極めて少ない疾患は、海外での売り上げ見込みが立たない限り国内開発が困難であると推察され、そうした状況を反映している可能性が考えられる。

さらに、市場規模予測が大きくなると6か月超の日本先行や海外先行の確率が低下し、ほぼ同時承認の確率が上昇することも示唆された。本稿の分析手法とは一部異なるものの、過去の医薬産業政策研究所の調査においても長期ラグ品目の特徴として「ピーク時の市場規模予測が100億円未満（ラグ期間中央値：28.9ヵ月）」が挙げられており、本結果はこれらの先行研究とも矛盾のない傾向と考えられる<sup>23, 24)</sup>。ただし、繰り返しになるがピーク時予測投与患者数の効果と相殺される可能性も想定されることから、今後、より詳細な分析が求められる。

## ③ 品目について

品目に関する特徴としては、国際共同治験の実

施によって同時承認の確率が有意に上昇し、海外先行（6か月超）の確率が低下していた。国際共同治験については、本稿と調査対象や分析条件が異なるものの、以前の政策研ニュース等で報告された分析結果と矛盾のない結果であった<sup>23, 24)</sup>。また、米国の Breakthrough Therapy の指定を受けた品目で6か月超の日本先行の確率が低下し、海外先行の確率が上昇する傾向が見られた。Breakthrough Therapy は開発から審査に至るまで、FDAが特別にサポートする措置に加え、経験豊かな審査担当が直接携わる等の優遇策も図られ、米国での早期承認に向けて手厚くサポートされる<sup>9)</sup>。一方、日本の承認審査期間は欧米と比べて最小である状況が続いており<sup>9, 10)</sup>、実際に本稿の調査でも申請日は同じだが日本で先行承認されている品目が散見された。しかし、Breakthrough Therapy 指定品目では、日本の審査期間の短さによる逆転は通常品目より起きにくいことが予想され、日本先行（6か月超）の確率が低下することは妥当と考えられる。なお、Breakthrough Therapy の指定の有無別に日本の承認申請データに国際共同治験が含まれる割合を確認したところ、指定品目の方が国際共同治験を含む割合が多かった（補足4）。したがって、米国で革新的と評価された品目については、日本先行（6か月超）の可能性は弱まるものの大きな遅れなく開発が進められている可能性が伺われた。

今回「日本で革新的と判断された品目」の指標として仮定した「原価計算方式かつ新薬創出等加算該当」については、一貫して承認順との有意な差が認められなかった。このことから、今回採用した指標は、承認順に大きな影響を与えていない可能性が示唆される。本分析では、米国の Breakthrough Therapy とやや類似する国内制度である先駆け審査指定制度／先駆的医薬品の該当性は制度上の制約から説明変数に含めなかった。しかし、この制度はおそらく、Breakthrough Therapy とは逆に、日本先行（6か月超）の確率を上昇させる要因となり得ると考えられる。

以上より、承認順に影響を及ぼす因子としては、製薬企業の海外基盤、ピーク時予測投与患者数、

国際共同治験、ピーク時市場規模予測、米国の薬事上特別措置等が挙げられる。本稿の調査では、日本での6か月超の先行承認や海外とのほぼ同時承認の確率を上昇させる要因についての体系的な考察には至らなかったが、現状把握として、今後の環境整備の一助となることを期待したい。

## 5. おわりに

本稿では、日本先行承認品目の薬価算定および海外での承認・開発状況を整理するとともに、承認順に関連すると考えられる因子について検討した。

重要なのは、承認順や海外での承認状況自体ではなく、必要な医薬品が早期に提供されることである。早期アクセスの観点では、日本先行承認は海外との同時承認と同様、もしくはそれ以上の意義を有すると考えられる。また、日本でのみ承認されている状況は、日本先行承認の一時的な段階である可能性に加え、日本固有の医療ニーズに応える医薬品である可能性もある。こうした状況を否定的に捉える見方が強まった場合、早期アクセスの低下や、日本国内特有の医療ニーズに基づく医薬品開発が進みにくくなるおそれも考えられる。

承認順は企業、疾患、品目の特性や海外制度等、複数の要因が関与して決まる。そのため、承認順や一時点における承認状況のみに着目するのではなく、日本における新薬の早期アクセスを促す観点で、各種制度や開発環境の整備が重要である。

## 謝辞

本稿の統計解析にあたり、一橋大学名誉教授 長岡 貞男 先生に多大なご指導、ご助言を賜りまし

た。ここに深く感謝申し上げます。

## 統計解析の詳細

承認順への影響度は、統計解析ソフト Stata/IC 14.0 for Windows (Stata Corp LP, CollegeStation, TX, USA) を使用し、多項ロジスティック回帰分析による推定を実施した。本稿で調査した325品目を推定の対象とし、被説明変数は日本先行承認(6か月超)であれば1をとり、ほぼ同時承認(承認のずれが6か月以内)であれば2、海外先行承認(6か月超)であれば3をとるダミー変数とした。

説明変数としては、製薬企業、対象疾患、品目に関するものを用いた。

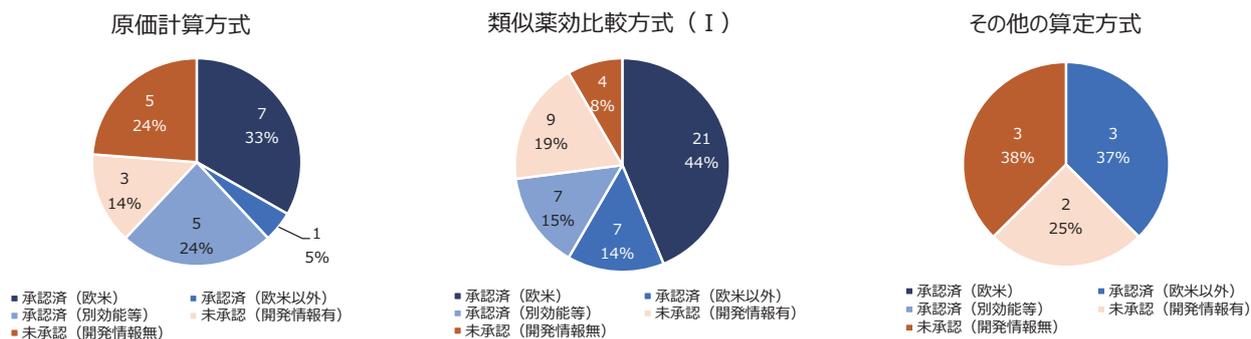
製薬企業に関するものとしては、内資であれば1をとり、外資であれば0をとるダミー変数と、海外売上比率により4分類し、該当する売上比率の場合に1をとるダミー変数を用いた。

対象疾患に関するものとしては、ピーク時予測投与患者数(自然対数)、そしてウルトラオーファンかどうかに関するダミー変数(ピーク時予測投与患者数20人未満であれば1をとる)、さらにはピーク時市場規模予測(自然対数)を用いた。

品目の特徴としては、日本を含む国際共同治験を実施していれば1をとるダミー変数、原価計算方式かつ新薬創出等加算に該当する場合に1をとるダミー変数、米国 Breakthrough Therapy に該当していれば1をとるダミー変数を用いた。

なお、多重共線性の懸念を検討するための参考情報として、各説明変数間の相関係数の絶対値が0.8未満であること、分散拡大係数(Variance Inflation Factor : VIF) が3.5未満であることを確認した。

補足1 日本先行承認品目（新有効成分含有）の海外承認・開発状況（2025年12月時点）算定方式別

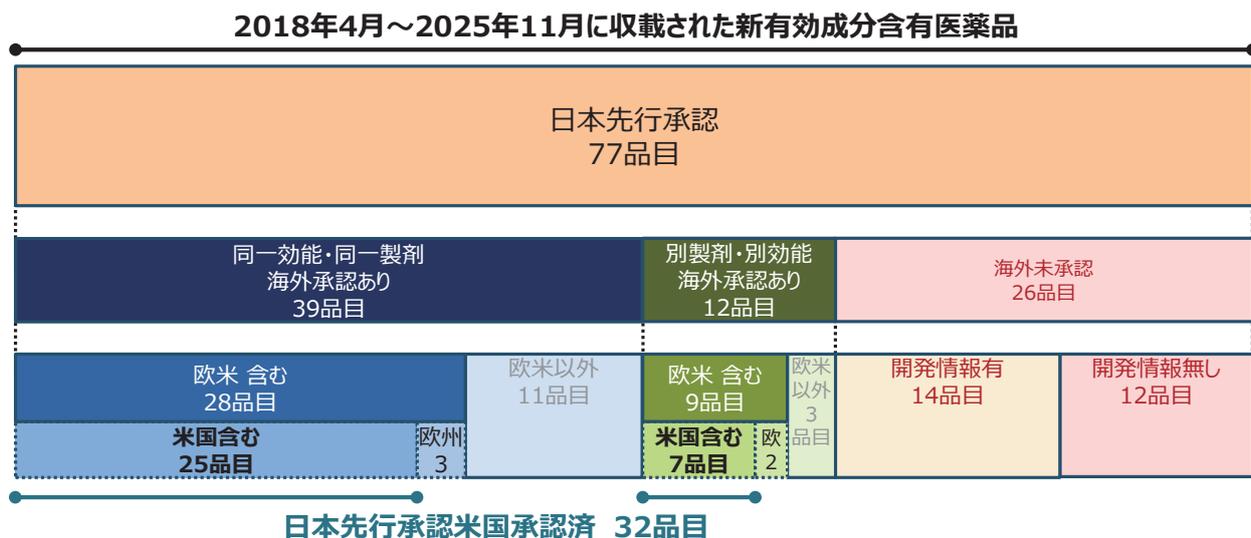


注1：初承認国が日本のものを日本先行、初承認国が海外のものを海外先行とした。日米同時承認の1品目は日本先行として分類した。

注2：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中医協総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した。

出所：2018年4月～2025年11月に収載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、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

補足2 日本で収載された新有効成分含有医薬品のうち、日本先行承認品目の海外承認状況（2025年12月時点）



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、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、中医協総会「新医薬品一覧表」に基づき分析した

出所：2018年4月～2025年11月に収載された新有効成分含有医薬品について、中医協資料、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

### 補足3 多項ロジスティック回帰分析結果

多項ロジスティック回帰分析結果 (被説明変数: 承認順)

Multinomial logistic regression      Number of obs      = 325  
 Wald chi2 (20)      = 890.89  
 Prob > chi2      = 0.0000  
 Log pseudolikelihood = -226.46019      Pseudo R2      = 0.2729

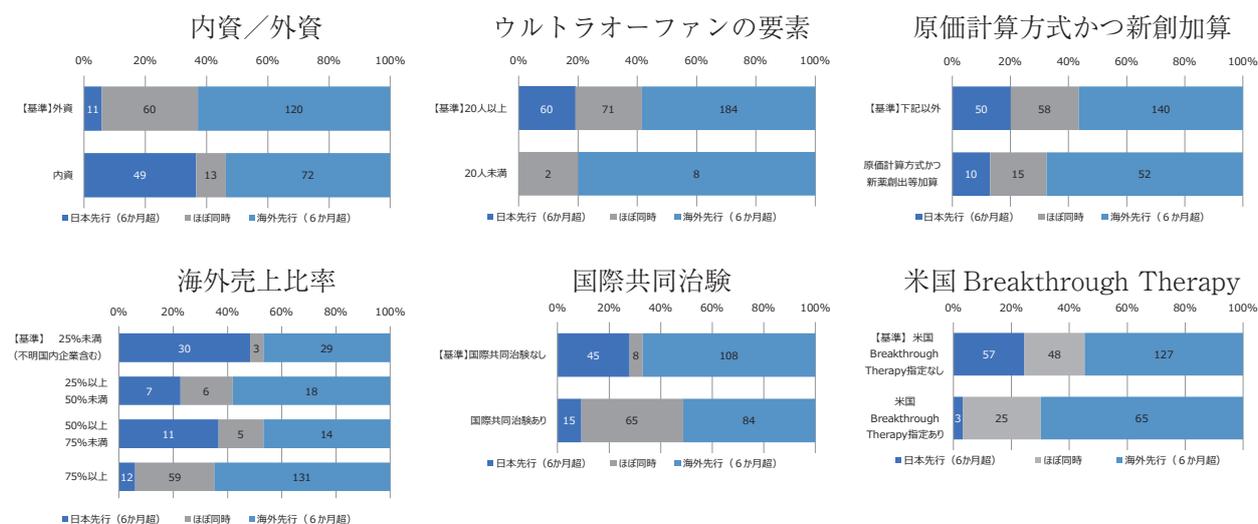
	日本先行 (6か月超)						ほぼ同時承認						海外先行 (6か月超)
	Coef.	Robust Std. Err.	z	P >  z	[95% Conf. Interval]	Coef.	Robust Std. Err.	z	P >  z	[95% Conf. Interval]			
内資	0.6672	0.6337	1.05	0.292	-0.5750	1.9093	-0.1797	0.4995	-0.36	0.719	-1.1588	0.7994	(base outcome)
海外売上比率 25%以上 50%未満	-0.7725	0.5752	-1.34	0.179	-1.8999	0.3548	0.2555	0.9367	0.27	0.785	-1.5805	2.0914	
海外売上比率 50%以上 75%未満	-0.7264	0.5677	-1.28	0.201	-1.8390	0.3861	0.5389	0.8188	0.66	0.510	-1.0659	2.1437	
海外売上比率 75%以上	-1.8762	0.6483	-2.89	0.004***	-3.1468	-0.6056	0.1199	0.7198	0.17	0.868	-1.2910	1.5307	
ピーク時予測投与患者数(自然対数)	0.1484	0.0941	1.58	0.115	-0.0362	0.3329	-0.0965	0.0828	-1.17	0.244	-0.2587	0.0657	
超希少疾病 (20人未満)	-13.1220	0.7201	-18.22	0.000***	-14.5334	-11.7106	2.4081	0.9465	2.54	0.011**	0.5531	4.2632	
ピーク時市場規模予測 (自然対数)	-0.1315	0.1227	-1.07	0.284	-0.3721	0.1090	0.6883	0.1707	4.03	0.000***	0.3536	1.0229	
国際共同治験	0.2594	0.4397	0.59	0.555	-0.6023	1.1212	2.2072	0.4490	4.92	0.000***	1.3271	3.0872	
原価計算方式かつ新薬創出等加算	-0.6749	0.5368	-1.26	0.209	-1.7271	0.3772	0.0700	0.4627	0.15	0.880	-0.8368	0.9769	
米 Breakthrough Therapy	-1.5318	0.6876	-2.23	0.026**	-2.8794	-0.1841	-0.5501	0.3658	-1.5	0.133	-1.2671	0.1668	
定数項	1.3764	2.3839	0.58	0.564	-3.2959	6.0488	-17.2680	3.4137	-5.06	0.000***	-23.9588	-10.5772	

	限界効果																	
	日本先行 (6か月超)						ほぼ同時承認						海外先行 (6か月超)					
	dy/dx	Delta-method Std. Err.	z	P >  z	[95% Conf. Interval]	dy/dx	Delta-method Std. Err.	z	P >  z	[95% Conf. Interval]	dy/dx	Delta-method Std. Err.	z	P >  z	[95% Conf. Interval]			
内資	0.0767	0.0713	1.08	0.282	-0.0629	0.2164	-0.0356	0.0628	-0.57	0.571	-0.1586	0.0874	-0.0411	0.0871	-0.47	0.636	-0.2118	0.1295
海外売上比率 25%以上 50%未満	-0.0761	0.0465	-1.64	0.101	-0.1672	0.0149	0.0451	0.1251	0.36	0.719	-0.2001	0.2902	0.0311	0.1305	0.24	0.812	-0.2247	0.2868
海外売上比率 50%以上 75%未満	-0.0751	0.0433	-1.73	0.083*	-0.1600	0.0098	0.0824	0.1102	0.75	0.455	-0.1337	0.2984	-0.0073	0.1207	-0.06	0.952	-0.2438	0.2293
海外売上比率 75%以上	-0.2311	0.0828	-2.79	0.006***	-0.3934	-0.0688	0.0595	0.0838	0.71	0.478	-0.1048	0.2238	0.1716	0.1044	1.64	0.100	-0.0330	0.3762
ピーク時予測投与患者数(自然対数)	0.0171	0.0094	1.81	0.070*	-0.0014	0.0356	-0.0147	0.0104	-1.42	0.155	-0.0350	0.0056	-0.0024	0.0132	-0.18	0.858	-0.0282	0.0235
超希少疾病 (20人未満)	-0.1882	0.0185	-10.18	0.000***	-0.2244	-0.1520	0.3834	0.1298	2.95	0.003***	0.1289	0.6378	-0.1952	0.1308	-1.49	0.136	-0.4516	0.0613
ピーク時市場規模予測 (自然対数)	-0.0253	0.0127	-2	0.046**	-0.0501	-0.0005	0.0894	0.0204	4.38	0.000***	0.0494	0.1295	-0.0641	0.0217	-2.95	0.003***	-0.1067	-0.0215
国際共同治験	-0.0125	0.0445	-0.28	0.779	-0.0998	0.0747	0.2622	0.0429	6.12	0.000***	0.1782	0.3463	-0.2497	0.0564	-4.43	0.000***	-0.3603	-0.1391
原価計算方式かつ新薬創出等加算	-0.0672	0.0487	-1.38	0.167	-0.1627	0.0282	0.0190	0.0602	0.32	0.752	-0.0990	0.1370	0.0482	0.0711	0.68	0.498	-0.0912	0.1876
米Breakthrough Therapy	-0.1297	0.0476	-2.73	0.006***	-0.2229	-0.0364	-0.0502	0.0448	-1.12	0.263	-0.1380	0.0376	0.1798	0.0629	2.86	0.004***	0.0566	0.3031

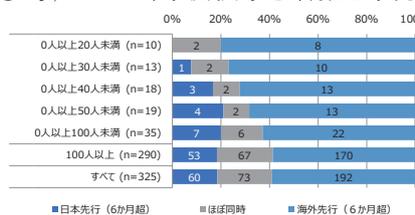
\* P < 0.1, \*\* P < 0.05, \*\*\* P < 0.01

出所: 2018年4月~2025年11月に掲載された新有効成分含有医薬品について、中薬協資料、インタビューフォーム、明日の新薬(テクノミック制作)、日本製薬工業協会「承認取得品目データベース」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

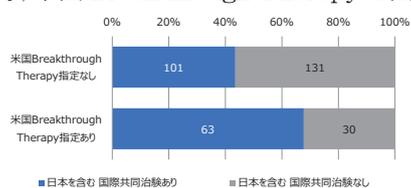
## 補足4 各説明変数の分布



(参考)ピーク時予測投与患者数と承認順



(参考)米国 Breakthrough Therapy と国際共同治験



注1：日本先行、同時承認、海外先行の3つに分類する際は、日本先行承認（承認時期の差が6か月超）、ほぼ同時承認（承認時期の差が6か月以内）、海外先行承認（承認時期の差が6か月超）とした

注2：グラフ内の数値は該当品目数を示し、同一成分かつ同一投与形態は1品目として集計した

出所：2018年4月～2025年11月に収載された新有効成分含有医薬品について、中薬協資料、インタビューフォーム、明日の新薬（テクノミック制作）、日本製薬工業協会「承認取得品目データベース」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

補足5 多項ロジスティック回帰分析に用いた各変数の基本統計量

各変数の基本統計量

	Obs	Mean	Std.Dev.	Min	Max
内資	325	0.412308	0.493009	0	1
25%以上50%未満	325	0.095385	0.294198	0	1
海外売上比率	325	0.092308	0.289906	0	1
50%以上75%未満	325	0.621539	0.485751	0	1
75%以上	325	0.621539	0.485751	0	1
ピーク時予測投与患者数(自然対数)	325	7.915627	2.861255	1.098612	15.49447
超希少疾病(20人未満)	325	0.030769	0.172958	0	1
ピーク時市場規模予測(自然対数)	325	22.08391	1.694855	13.69898	25.31434
国際共同治験	325	0.504615	0.50075	0	1
原価計算方式かつ新薬創出等加算	325	0.236923	0.42585	0	1
米国 Breakthrough Therapy	325	0.286154	0.452659	0	1

	日本先行(6か月超)					ほぼ同時承認					海外先行(6か月超)					
	Obs	Mean	Std.Dev.	Min	Max	Obs	Mean	Std.Dev.	Min	Max	Obs	Mean	Std.Dev.	Min	Max	
内資	60	0.816667	0.390205	0	1	73	0.178082	0.38523	0	1	192	0.375	0.485389	0	1	
海外売上比率	25%以上50%未満	60	0.116667	0.323732	0	1	73	0.082192	0.276557	0	1	192	0.09375	0.292243	0	1
	50%以上75%未満	60	0.183333	0.390205	0	1	73	0.068493	0.254338	0	1	192	0.072917	0.260679	0	1
	75%以上	60	0.2	0.403376	0	1	73	0.808219	0.396426	0	1	192	0.682292	0.466803	0	1
ピーク時予測投与患者数(自然対数)	60	9.548849	3.401796	3.218876	15.49447	73	7.995656	2.658184	1.098612	13.71015	192	7.374817	2.552425	1.609438	13.99783	
超希少疾病(20人未満)	60	0	0	0	0	73	0.027397	0.164368	0	1	192	0.041667	0.200349	0	1	
ピーク時市場規模予測(自然対数)	60	21.83937	1.398294	17.74734	23.97751	73	23.0025	1.094354	19.6146	25.31434	192	21.81107	1.844246	13.69898	24.71963	
国際共同治験	60	0.25	0.436667	0	1	73	0.890411	0.314539	0	1	192	0.4375	0.497375	0	1	
原価計算方式かつ新薬創出等加算	60	0.166667	0.375823	0	1	73	0.20548	0.406848	0	1	192	0.270833	0.445552	0	1	
米国Breakthrough Therapy	60	0.05	0.219784	0	1	73	0.342466	0.477819	0	1	192	0.338542	0.474451	0	1	

出所：2018年4月～2025年11月に掲載された新有効成分含有医薬品について、中薬協資料、インタビューフォーム、明日の新薬(テクノミック制作)、日本製薬工業協会「承認取得品目データベース」をもとに医薬産業政策研究所にて作成



# 医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況 —2025年6月までの動向分析—

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子  
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 枝廣 誠

## 要約

- ClinicalTrials.govを用いて、2025年6月末時点の医薬品の臨床試験におけるウェアラブルデバイスの活用状況を調査した。
- ウェアラブルデバイスを用いた試験は2016年に初めて確認され、2019年に大幅な増加が認められた後、継続的に活用されている。また、2025年においては限定的な期間の集計値であるが、登録された試験数に更なる増加の傾向が認められた。
- 実施PhaseはPhase 2、Phase 4が多く、Phase 3では限定的であった。
- 臨床試験の地域別の実施数は、アメリカ合衆国が突出して多く、ヨーロッパ、東アジア等全21か国の登録が認められた一方で、日本の事例は2021年7月に発行した政策研ニュース No.63<sup>1)</sup>で報告された1件のみであった。
- ウェアラブルデバイスが活用されていた疾患領域は神経系の疾患、精神および行動の障害、循環器系の疾患等であった。また、測定項目としては、睡眠、身体活動、歩行、バイタルをはじめ、多岐にわたる項目が確認された。
- 近年、ウェアラブルデバイスの測定範囲は拡大し、夜間の掻破動作や咳嗽頻度、運動緩慢・不随意運動・振戦などといった運動指標を含む多様な生体情報を、連続的かつリアルタイムで取得可能となった。

## 1. はじめに

近年、ウェアラブルデバイスは医療・ヘルスケア領域で急速に存在感を高めており、医薬品開発の現場でもその活用が広がりつつある。とりわけ臨床試験では、日常生活下で得られる多様な生体情報を連続的かつ客観的に取得できる手段として注目されており、従来の診察や自己報告では把握が困難であった指標を補完する技術として期待が高まっている。こうした特性は、研究の精度向上や新たな評価手法の構築に資するものとして、本格的な導入が進められている。医薬産業政策研究所では、政策研ニュース No.63において、医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの臨床試験での活用状況を初めて調査・報告した。本稿は、その後の技術的進展や臨床現場での実装事例の蓄積を踏まえ、2025年6月末時点の状況を整理するものである。

ウェアラブルデバイスの性能向上に伴い、その臨床試験における役割は拡大し、活用の目的や方法も多様化している。これまでにない形での評価やデータ収集の可能性が広がる一方、活用には依然としていくつかの課題も残されている。こうした背景を踏まえ、最新の調査結果と具体的な活用事例を示しつつ、利活用の進展とその意義を明らかにし、今後の展望を概観する。

1) 医薬産業政策研究所、「医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況」、政策研ニュース No.63 (2021年7月)

## 2. 臨床試験におけるウェアラブルデバイスの活用状況

政策研ニュースNo.63と同様の方法を用いて、医薬品の臨床試験でウェアラブルデバイスがどのくらい活用されているのかを調査した。本調査では、2025年6月末時点でClinicalTrials.govに登録されている全試験の中から、以下の条件に基づいて抽出を行った。

- ① 語句検索：Wearable
- ② Interventions：Drug or Biological（Device検証試験を除く）
- ③ Study Type：Interventional

この条件に基づき、ウェアラブルデバイスで取得されるデータを活用している試験を選定し、さらに「Start Date」が2025年末までの試験を分析対象とした結果、118件が該当した。

ClinicalTrials.gov は、米国国立衛生研究所（NIH）等が管理する臨床試験登録・結果データベースである。米国内で実施される臨床試験は登録が義務づけられており、他国の試験や製薬企業による登録は任意であるが、200か国以上から登録されており、世界最大級の臨床試験データベースの一つとされる。

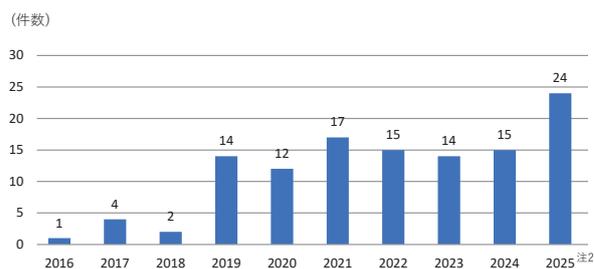
なお、本調査は「Wearable」の語句検索に基づいているため、ウェアラブルデバイスを活用していても語句を含まない試験は抽出されず、全体件数は限定されている可能性がある。

### 2-1 調査結果「年次ごとの試験実施件数」

本節の集計では、抽出した118件の臨床試験について、各試験の開始年「Start Date」として記載されている年次ごとの件数をカウントした（図1）。

前回の政策研ニュースNo.63で示したように、ウェアラブルデバイスを用いた試験は2016年に初めて検出された。2019年には試験数の大幅な増加が認められ、それ以降は継続的に活用されていることが確認できる。また、2025年においては6月末時点までの限定的な期間であるものの、登録された試験数に更なる増加の傾向が認められるため、引き続き活用の動向を注視する必要がある。

図1 医薬品臨床試験におけるウェアラブルデバイス活用試験数



注1：各試験のStart Dateとして記録されている年においてカウント

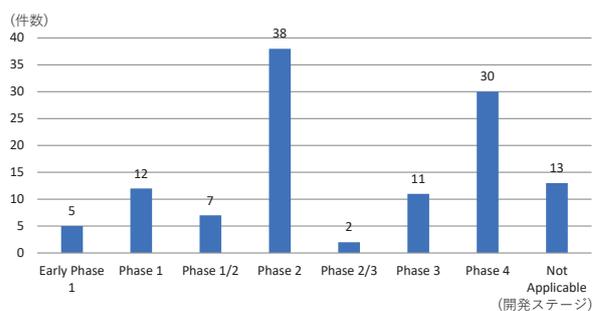
注2：2025年は2025年6月末までに登録された情報であり、7月以降に開始を予定している8試験を含む  
出所：ClinicalTrials.gov より医薬産業政策研究所にて作成

### 2-2 調査結果「実施 Phase」

図2では、医薬品の臨床試験のどのPhaseでウェアラブルデバイスが使用されているかを示した。

最も多く使用されていたのはPhase 2の38件（前回報告12件から増加）で、ウェアラブルデバイス活用試験全体の36%（Not Applicable：13件を除いた105試験中）を占めており、臨床試験全体におけるPhase 2の割合（30%）と比べても高かった。次いでPhase 4が30件（前回報告14件から増加）で、ウェアラブルデバイス活用試験全体の29%を占め、臨床試験全体の割合（22%）を上回っていた。一方、医薬品の申請の要となるPhase 3では、前回報告から件数の増加は認められたものの（6件→11件）、ウェアラブルデバイス活用試験全体の10%であり、臨床試験全体における割合（17%）に比べて低く、限定的であった。

図2 臨床試験数 実施 Phase 別



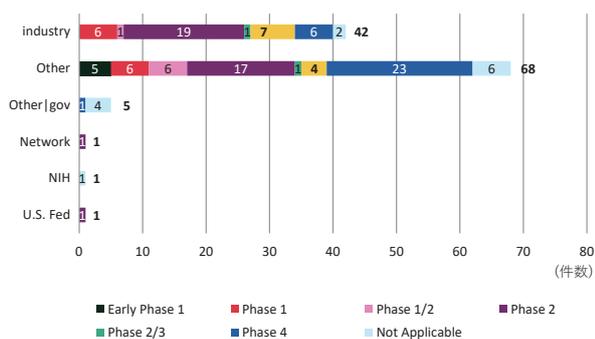
出所：ClinicalTrials.gov より医薬産業政策研究所にて作成

### 2-3 調査結果「実施主体」

図3では臨床試験の実施主体別に実施件数を示した。

最も多いのはOtherの68件であり、次いでIndustry、Other/govの順であった。Otherには病院、大学が含まれており、前回報告と同様に自主研究などにウェアラブルデバイスを積極的に活用していると考えられた。Other（主に病院、大学）での活用Phaseの傾向は前回報告と比較し、Phase 2及びPhase 4での活用が増加（それぞれ3件→17件、3件→23件）した。Industryでの主な活用においてはPhase 2が最も多く、前回報告からの増加が大きかった（7件→19件）が、その他Phaseにおける顕著な伸びは認められなかった。

図3 臨床試験数 実施主体別



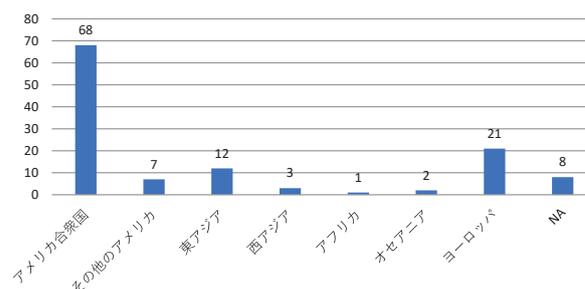
出所：ClinicalTrials.govより医薬産業政策研究所にて作成

### 2-4 調査結果「実施国」

図4では臨床試験の地域別の実施数を示した。

アメリカ合衆国が68件で最も多く、次いでヨーロッパ21件、東アジア12件であった。国別では、アメリカ合衆国に続き中国7件、カナダ6件であった。その他の国は各々1～4件の実施数であった。先に述べた通り、アメリカ合衆国ではFDAに医薬品を申請するために、その臨床試験をClinicalTrials.govへ事前登録することが義務化されているため、本件数の解釈には留意する必要があるが、ClinicalTrials.govによると、アメリカ合衆国が含まれる登録試験の割合は32%<sup>2)</sup>であり、この

図4 臨床試験数 実施地域別



注1：複数国共同試験は治験実施国ごとに個別にカウント  
注2：その他のアメリカにはカナダ、ジャマイカ、東アジアには中国、台湾、韓国、シンガポール、日本、西アジアにはイスラエル、トルコ、アフリカにはナイジェリア、オセアニアにはオーストラリア、ヨーロッパにはイギリス、スペイン、オランダ、ドイツ、デンマーク、スイス、スウェーデン、ノルウェー、ベルギーが含まれる

出所：ClinicalTrials.govより医薬産業政策研究所にて作成

割合から見てもアメリカ合衆国におけるウェアラブルデバイスを活用した試験数は多いといえる。一方で、日本での試験数は前回の政策研ニュースで報告したアルツハイマー型認知症を対象疾患とした京都大学主体の試験1件のみであった。このことから、日本におけるウェアラブルデバイスの臨床試験活用は進んでいないことが明らかとなった。また、前回報告では10か国であったところ、今回の調査では21か国の登録が認められ、世界的には活用の裾野が広がっている様子がうかがわれた。

### 2-5 調査結果「対象疾患」

ウェアラブルデバイスを用いて実施された臨床試験の対象疾患を国際疾病分類第10版（以下、ICD-10疾病分類）（表1）で整理した結果を図5に示した。

最も多くウェアラブルデバイスが活用されていた疾患領域はG：神経系の疾患39件であった。次いでF：精神および行動の障害14件、I：循環器系の疾患14件であった。個別の疾患では、前回報告と同様にパーキンソン病や心不全を対象とする試験が多く見られた他、各種がんやCOVID-19急

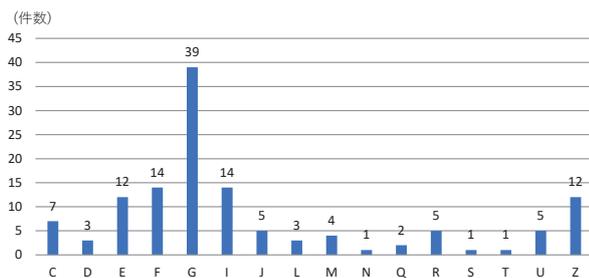
2) National Library of Medicine, ClinicalTrials.gov, “Trends and Charts on Registered Studies” (2025年8月29日時点)、<https://clinicaltrials.gov/about-site/trends-charts#recruitingStudies>

表1 ICD-10疾病分類項目

ICD-10 コード	疾病分類項目名
C	新生物（腫瘍）
D	血液および造血器の疾患並びに免疫機構の障害
E	内分泌、栄養および代謝疾患
F	精神および行動の障害
G	神経系の疾患
I	循環器系の疾患
J	呼吸器系の疾患
L	皮膚および皮下組織の疾患
M	筋骨格系および結合組織の疾患
N	泌尿生殖器系の疾患
Q	先天奇形、変形および染色体異常
R	症状、徴候および異常臨床所見・異常検査所見
S	損傷、中毒およびその他の外因の影響（身体部位別）
T	損傷、中毒およびその他の外因の影響（部位不特定）
U	特殊目的のコード（例：新興疾患、研究目的など）
Z	健康状態に影響を及ぼす要因および保健サービスの利用

出所：World Health Organization, International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems 10th Revision, 2019より医薬産業政策研究所にて作成

図5 ICD-10疾病分類



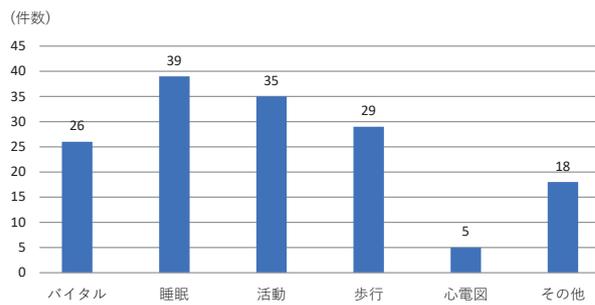
注：原疾患による症状等に対する試験は各コードでカウント  
出所：ClinicalTrials.govより医薬産業政策研究所にて作成

性期後症候群、肥満などの疾患での活用が複数件認められ、ウェアラブルデバイスは更に広い範囲の疾患で活用が進んでいることが示された。

## 2-6 調査結果「測定項目」

ウェアラブルデバイスによる測定項目を図6に

図6 ウェアラブルデバイスによる測定項目



出所：ClinicalTrials.govより医薬産業政策研究所にて作成

示した。

最も多かったのは、睡眠に関する測定39件であった。総睡眠時間、浅い／深い睡眠時間、覚醒回数など睡眠パターンや質を評価するものが中心であった。次に身体活動の測定が多く見られ35件で、活動時間、活動量が測定されていた。さらに、歩行測定が29件（歩数、歩行速度など）、バイタルが26件（心拍数、呼吸数、血中酸素飽和度など）と続いた。その他として、咳回数、まばたき活動、発作頻度や強さ、パーキンソン病の運動測定などが含まれていた。

## 3. ウェアラブルデバイスの活用用途

近年、ウェアラブルデバイスの測定範囲は拡大し、夜間の掻破動作や咳嗽頻度、運動緩慢・不随意運動・振戦などといった運動指標を含む多様な生体情報を、連続的かつリアルタイムで取得可能となった。

これにより、従来は客観的評価が困難であった臨床イベントの定量化や、複数の指標を統合的に解析することで病態の包括的評価が可能となり、ウェアラブルデバイスの活用は質的な進化を遂げている。

本節では、前節までの定量的分析から視点を転じ、前回の報告以降に顕在化したウェアラブルデバイスの代表的な活用事例について、関連文献を基に紹介する。

### 3-1 従来は客観的評価が困難であった臨床イベントの定量化

患者の主観的評価に大きく依存していた疾患特

有のイベントを、客観的なデジタル指標として直接捉える技術が確立されたことは、近年の重要な進展の一つである。

#### 【音響モニタリングによる咳の客観的評価】

慢性咳嗽治療薬 Gefapixant の Phase 3 試験で、英国の Vitalograph 社製の携帯型デジタル音響録音装置 VitaloJAK™ が用いられた。患者が本デバイスを24時間携帯し、コンピューターアルゴリズムとアナリストにより、「24時間咳嗽頻度の平均変化量」を客観的に算出するものである。この「24時間咳嗽頻度の平均変化量」は、有効性を評価する主要評価項目として採用され、本薬はプラセボに対し有意に咳嗽頻度を減少させることが証明されている<sup>3, 4)</sup>。

#### 【加速度センサーによる睡眠中搔爬行動の定量化】

アトピー性皮膚炎治療薬 Baricitinib の Phase 3 試験で、英国の Activinsights社製のウェアラブルセンサー「GENEActiv」が用いられた。本デバイスは、手首に装着する三軸加速度計であり、睡眠中の腕の動きを連続的にデータとして記録し、搔爬行動に特有のパターンを専用のアルゴリズムを用いて識別・定量化するものである。これにより、夜間搔痒の持続時間と強度、睡眠時間の割合、入眠後の覚醒時間などのデジタルエンドポイントが算出され、治療効果の評価に活用されている<sup>5)</sup>。

### 3-2 複数の指標を統合解析することによる病態の包括的な評価

単一のデバイスで、複数の異なる指標を同時に、

かつ連続的に測定し、それらを統合解析することで、より複雑な病態を包括的に評価するアプローチも実用化されつつある。

#### 【多角的運動指標の統合によるパーキンソン病症状の評価】

パーキンソン病治療薬の Foslevodopa/Foscarbidopa の Phase 3 試験で、米国の Global Kinetics 社製のウェアラブルデバイス「Personal KinetiGraph® (以下、PKG)」が用いられた。PKG は、手首に腕時計のように装着する加速度計から得られるデータを、パーキンソン病に特化したアルゴリズムで解析し、運動緩慢（ブラジキネジア）、不随意運動（ジスキネジア）、振戦といった複数の運動指標を同時に定量化し、さらに薬剤効果のオン・オフ状態を連続的に可視化する。これにより、薬剤が日常生活下で運動症状全体をいかに安定的かつ包括的にコントロールするかを、客観的データとして実証できる。その上で、「PKG によって測定されたジスキネジア及びブラジキネジアのスコア（中央値及び四分位範囲）の変化」は、副次評価項目の一つとして、採用されている<sup>6, 7)</sup>。

以上の事例が示すように、医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用は、単に活動量を測るだけでなく、咳の回数のような具体的な症状や、複数の情報を組み合わせた疾患全体の評価へと、その役割を大きく広げており、医薬品の有効性を多角的かつ客観的に証明するための、極めて有用なツールへと進化を遂げつつある。

- 3) McGarvey LP, et al., "Efficacy and safety of gefapixant, a P2X3 receptor antagonist, in refractory chronic cough and unexplained chronic cough (COUGH-1 and COUGH-2) : results from two double-blind, randomised, parallel-group, placebo-controlled, phase 3 trials." *Lancet*, 399 (10328), 909-923, 2022.
- 4) Muccino, DR, et al., "Design and rationale of two phase 3 randomised controlled trials (COUGH-1 and COUGH-2) of gefapixant, a P2X3 receptor antagonist, in refractory or unexplained chronic cough." *ERJ Open Research*, 6(4), 2020
- 5) Ji J, et al., "Assessing treatment effect of baricitinib in atopic dermatitis using digital endpoints derived from actigraphy data : nocturnal scratch and sleep disturbance. *J Invest Dermatol.*" 143(11 Suppl) : S364. Abstract 192, 2023.
- 6) Soileau M J, et al., "Safety and efficacy of continuous subcutaneous foslevodopa-foscarbidopa in patients with advanced Parkinson's disease : a randomised, double-blind, active-controlled, phase 3 trial." *Lancet Neurol*, 21(12) : 1099-1109, 2022
- 7) U.S. Food and Drug Administration. Clinical Review : NDA 215804 Foslevodopa-Foscarbidopa (Vyalev) [Internet]. Silver Spring (MD) : FDA : 2022

#### 4. ウェアラブルデバイスを臨床試験で活用する際の課題

ウェアラブルデバイスを用いることで、試験参加者や患者の解釈、記憶、判断に依存しない（バイアスのない）、より客観的なデータを収集することができ、診察や検査では収集が難しかった日常生活の生体反応（運動、睡眠、発作等）に関するデータを、連続的かつタイムリーに収集し、可視化することができる。さらに、発作や服薬状況等を確認できるウェアラブルデバイスと医療機関が相互に通信することで、リアルタイムな試験参加者や患者へのサポートが可能となる。

しかし、医薬品開発でこのような多種多様なデータを活用する上では課題となる点も存在する。以下に主な課題を挙げる。

##### ① データの正確性と解釈

ウェアラブルデバイスは通常、機器そのものの品質に加え測定環境やユーザーの装着方法、センサーの性能や装着位置などの影響を受けやすく、ノイズやばらつきを含む可能性がある。そのため、膨大かつ多様なデータをどのように解釈し、臨床的に有用な情報として活用するかに加え、信頼性のある基準値の設定も含めた新たな課題への対応が求められる。

##### ② 評価指標とデバイス間の標準化の妥当性

ウェアラブルデバイスによって収集されるデータや評価指標が、患者にとって真に意味のある、価値あるアウトカムを適切に反映しているかどうかを検証することが求められる。一方、ウェアラブルデバイスの多様化により、デバイス間の標準化が不十分であり、異なる機器から得られたデータの比較や統合が困難となっている。このことは、アウトカムの解釈や結果の一般化に影響を及ぼす可能性がある。

##### ③ プライバシーとデータセキュリティの懸念

ウェアラブルデバイスは個人の健康データを扱うため、プライバシーやデータのセキュリティに関する懸念が高まる。法律や規制に従った適切な管理に加え、データ漏洩や不正利用のリスクを低減させるため、十分な対策を講じる必要がある。

##### ④ 参加者の遵守（アドヒアランス）

ウェアラブルデバイスの活用が求められる試験では、参加者がデバイスを適切に着用し続けることが重要となる。デバイスの着用を拒否したり、頻繁に外したりする参加者がいると、データの収集が不完全になる可能性がある。さらに、高齢者やデジタル機器に不慣れな参加者にとっては操作そのものがハードルとなる場合がある。

##### ⑤ 規制・承認上の課題

ウェアラブルデバイスで得られたデータを薬事承認に用いる場合、評価基準や承認プロセスが明確化されていない領域が多く存在する。そのため、従来の評価項目とのバリデーションが必要であり、臨床試験における適切な位置づけを確立することが求められる。

#### 5. まとめと考察

ウェアラブルデバイスは、臨床試験の多様な場面で活用が試みられ、新たな可能性を示している。これらのデバイスは、心拍数、歩数、血圧、睡眠状態などの生理的データをリアルタイムで収集できるため、医療研究におけるデータ収集の方法を根本的に変えつつある。リアルタイムでのデータ収集の能力は、従来の自己報告や定期的な診察に頼った評価方法を補完し、試験参加者の健康状態を客観的かつ連続的にモニタリングすることを可能とする。このようにして得られた詳細なデータは、治療効果の精緻な評価や副作用の早期発見、更には患者のライフスタイルの変化の把握といった臨床研究の質的向上に寄与する。

本稿におけるウェアラブルデバイスの臨床試験における活用の実態調査の結果、Phase 2 および Phase 4 における活用促進が認められた一方で、Phase 3 での活用は、前回報告からの大きな増加は認められなかった。Phase 3 試験は医薬品の有効性と安全性を最終的に検証し、承認申請の根拠となるデータを取得することが主な目的となるため、活用するウェアラブルデバイスに求められる要件は厳しくなる。データの精度や信頼性、評価項目としての科学的妥当性が担保され、臨床試験の実施に関する基準である Good Clinical Practice

に準拠したデータの完全性などといった要件が、ウェアラブルデバイスを Phase 3 試験で活用する大きな障壁となっている可能性が考えられた。

また、今回の分析では、日本の臨床試験におけるウェアラブルデバイスの活用事例は前回報告から増加していなかった。この点に関連し、日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 データサイエンス部会が実施した調査では、活用にあたり以下のような課題が報告されている<sup>8)</sup>。

① 試験設計との適合性の問題

「ウェアラブルデバイスの活用に適した試験がない」

② 技術的／運用的な課題への対応力不足

「膨大なデータのハンドリング、分析とそのトレーニング」、「取得中データのモニタリング頻度や方法の検討」、「被験者側の負担（充電作業・同期の手間、長時間装着への抵抗感等）」、「評価指標が確立されていない」、「ウェアラブルデバイスのバリデーションの進め方」

③ ベンダー・デバイス選定に関する情報不足及び信頼性懸念

「適切な機器とベンダーの選定」、「デバイスの信頼性確保」、「グローバル試験でデバイスの各国承認状況が異なる場合の対応」

ウェアラブルデバイスの技術は日々進化しており、AIなど先進的な技術との統合により、新たな評価指標や解析手法が実現し、臨床評価の高度化を通じて医療への更なる貢献が期待される。しかし、日本が世界でのウェアラブルデバイスの活用動向に合わせ、これらを活用できる規制環境の整備や課題の克服ができなければ、こうした革新的技術を活用したグローバル臨床試験から取り残されるリスクが生じるであろう。

ウェアラブルデバイスは臨床試験におけるデータ収集の方法を革新する可能性を持っている。上記課題への対応を含めた今後のデジタル化の推進が急務といえる。

謝辞：

本稿の作成に当たりご協力、ご助言をいただいた元医薬産業政策研究所 中塚靖彦主任研究員に心より感謝の意を表す。

注：

本稿の一部内容は、『薬剤学』第86巻第1号(2026年1月)に掲載の論文「医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況－2025年6月までの動向分析－」<sup>9)</sup>をもとに再構成したものである。

8) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 データサイエンス部会 2023年タスクフォース1-2「DCTの導入状況およびDCTの各手法に関するアンケート結果」、2024年10月

9) 日本製薬工業協会 医薬産業政策研究所「医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況－2025年6月までの動向分析－」、薬剤学、86(1)、2026年1月

## 主な活動状況（2025年11月～2026年2月）

11月	2日	第30回日本薬剤疫学会 学術総会 ポスター発表	《薬剤疫学の目指すもの》 公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告表
	4日	政策研ニュース No.76 発行	
	25日	ポジションペーパー・ シリーズ No.9 発行	開発品を有する国内新興医薬品企業（EBP）に関する調査
12月	2日	ポジションペーパー・ シリーズ No.10 発行	患者と共創する医療・医薬品の進歩と価値向上に向けて － Patient-Reported Outcome（PRO）評価を恒常に－
	18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』）
1月	1日	薬剤学－生命とくすり－ 第86巻1号	《特集／近未来における医療ビジョンの実現に向けた薬剤学の貢献》 医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの活用状況－2025年6月までの動向分析－
	21日	ポジションペーパー・ シリーズ No.11 発行	製薬産業の実態と社会・経済的貢献

## レポート・論文紹介（2025年11月～）

第30回日本薬剤疫学会学術総会 ポスター発表

《薬剤疫学の目指すもの》

「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告」

### 【要旨】

現在、厚生労働大臣等が保有する医療・介護に関する公的データベースの仮名化情報の利用・提供や、他の仮名化情報、次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析が制度的に検討されている。

こうした背景を踏まえ、製薬企業における公的データベース等の利活用の実態、将来的な期待や課題、ならびに想定されるユースケースを明らかにすることを目的として、日本製薬工業協会医薬品評価委員会に所属する加盟74社を対象にウェブアンケート調査を実施した。

その結果、利活用経験については全回答の約4割が「活用または検討経験あり」と回答し、一定の取組みが確認され、今後の活用意向については約7割が前向きであった。

拡充が期待される情報としては、患者背景やカルテ由来情報、検査関連データが挙げられ、特に臨床検査値、画像データ、医師所見、任意接種記録に対する要望が多かった。

また、想定されるユースケースの疾患領域では「抗悪性腫瘍剤」が最多であったが、特定疾患に限らない横断的研究の重視も示された。

さらに、活用を希望するデータベースについては74.5%が「複数のデータベースの連結」を望み、とりわけNDBとの連結に強い期待が寄せられた。

こうした連結解析により、新たな治療法の効果や患者プロファイルの把握を通じた治療戦略の最適化や個別化医療の推進が可能となるとともに、市販後の安全性監視の強化や効率的なエビデンス構築など、多方面での進展が期待される。

今後の推進にあたっては、法的整備に加えて製薬企業の積極的な取組みと成功事例の共有を通じた意義の発信が不可欠であり、さらに、制度・運用面の課題のみならず企業内の理解不足や体制整備の遅れといった内部要因も克服する必要がある。したがって、実務に即した制度設計と企業内体制の強化を両輪として進めることが求められる。

ポジションペーパー・シリーズ No.9 発行

「開発品を有する国内新興医薬品企業（EBP）に関する調査」

### 【要旨】

日本は米国に次ぐ創薬大国であるものの、国内におけるEBPの果たす役割は現段階では依然として小さく、EBP育成の遅れが指摘されている。そこで本稿では、国内EBPの現状を把握するため、2025年2月時点で臨床パイプラインを保有する国内EBP108社を対象に、その成り立ち、資金調達、専門性、パイプライン構造、さらに各品目のモダリティ・疾患領域・出自などの特徴を明らかにした。

内EBPの設立年は2012年、設立時の調達額は約1,000万円、設立から3年以内の調達額は4.1億円、総調達額は22.4億円であった（いずれも中央値）。コア技術を有するEBPの割合は約3分の2であり、グローバル品を創出した米国EBPの割合と同程度であった。創業者の出自に着目すると、アカデミア出身者のみで

構成されるEBPが最も多く、製薬企業出身者や起業家など他カテゴリとの協働による創業例は相対的に少なかった。ただし、アカデミア出身者のみのEBPに、その他のカテゴリのメンバーが参画することで、一企業当たりの保有品目数や米国での治験実施率が高まる傾向がみられた。開発品目のモダリティ別では、低分子が126品目と最も多く、次いで細胞治療が33品目であった。対象疾患領域では中枢神経系が10品目で最多となり、モダリティ別では低分子と細胞治療で全体の4分の3以上を占めた。

以上の結果から、日本のEBPは、資金調達、ターゲットプロダクトプロファイル（TPP）の作成、知財戦略など、研究者としての専門性以外の企業運営上の役割を創業研究者自身が大きく担わざるを得ない状況にあると考えられる。一方、成功した米国EBPでは、創業初期から各領域の専門家がアカウンタビリティを持って参画し、それぞれの専門性を活かした協業体制を構築したうえで起業が行われている。日本においても、同様の体制を整備し、EBP運営を進めていく必要性が示唆された。またモダリティに関しては、細胞治療と低分子に一定の強みが認められた。細胞治療薬の創出をさらに加速させる取り組みが求められるとともに、低分子は日本の製薬企業が歴史的に得意としてきた領域であり、最新のトランスレーショナルリサーチ（TR）やAI技術による深化を通じて、メガファーマの後追いではない独自領域での画期的新薬を日本から生み出すことが十分可能であると考えられる。

---

ポジションペーパー・シリーズ No.10 発行

「患者と共創する医療・医薬品の進歩と価値向上に向けて - Patient-Reported Outcome（PRO）評価を恒常に -」

## 【要旨】

〈本ペーパーの作成背景〉

近年、医薬品開発における患者参画の重要性を産官学がそれぞれの立場から発信しているなか、患者に焦点をおいた医療、真の患者ニーズに応える創薬／医療技術開発の実現に向けて、「患者・市民参画：Patient and Public Involvement/Engagement（PPI/E）」の重要性が唱えられており、患者自身による健康評価である「患者報告アウトカム：Patient-Reported Outcome（PRO）」を日常診療、臨床試験に積極的に活用することへの関心が高まっている。

PROは患者評価の有用なツールであり、医薬品等の効率的な開発に資することが謳われているなかで、日本における臨床試験でのPROを活用した患者視点の医薬品の価値エビデンス創出がまだ限られている。有効性や安全性に加えて新薬の多様な価値が幅広く生かされる環境が構築され、真の患者ニーズに応える「高価値」医薬品の持続的な創出に繋がることを期待し作成した。

〈本ペーパーの目的〉

以下に示す方針で、海外の日常診療、臨床研究におけるPRO活用状況の調査と活用意義の国際的な意見の整理を行い、日本の状況と比較することで日本でのPROの活用拡大に向けて関係するステークホルダーと共に考える契機とする。

- ・海外PRO介入臨床研究の調査、PRO運用に関する国際状況の調査により利点と課題について考察する
- ・国内外の臨床試験におけるPRO実装状況をデータベースにより分析し、抽出された課題を考察する
- ・更なる創薬イノベーションに向けて、科学的妥当性の高いPROの開発と臨床試験への実装の重要性を考察する
- ・日常診療への科学的妥当性の高いPROの実装が医療の質の高度化と正確な医療技術評価に繋がる可能性を考察する

**【要旨】**

近年、ウェアラブルデバイスは医療・ヘルスケア領域で急速に存在感を高めており、医薬品開発の現場でもその活用が広がりつつある。とりわけ臨床試験では、日常生活下で得られる多様な生体情報を連続的かつ客観的に取得できる手段として注目されており、従来の診察や自己報告では把握が困難であった指標を補完する技術として期待が高まっている。こうした特性は、研究の精度向上や新たな評価手法の構築に資するものとして、本格的な導入が進められている。本稿では、医薬品開発におけるウェアラブルデバイスの臨床試験での活用状況について、技術的進展や臨床現場での実装事例の蓄積を踏まえ、2025年6月末時点の状況を整理した。

ウェアラブルデバイスを用いた試験は2016年に初めて検出され、2019年に大幅な増加が認められた後、継続的に活用されているが、日本からの報告は1件のみであった。実施 Phase は Phase2、Phase4が多く、Phase3では限定的であった。活用されていた疾患領域は神経系の疾患、精神および行動の障害、循環器系の疾患等で、測定項目としては、睡眠、身体活動、歩行、バイタルをはじめ、多岐にわたる項目が確認された。さらに、近年、ウェアラブルデバイスの測定範囲は拡大し、夜間の搔破動作や咳嗽頻度、運動緩慢・不随意運動・振戦などといった運動指標を含む多様な生体情報を、連続的かつリアルタイムで取得可能となっていることが明らかとなった。

**【要旨】**

この数年、政府から製薬産業への重視、期待感が表明され、基幹産業に位置づけられた。2024年に開催された「創薬エコシステムサミット」において、首相から「医薬品産業は我が国の今後の成長を担う基幹産業」と位置付ける発言があり、2025年には日本成長戦略会議において重点投資対象として「創薬」が掲げられた。これに対応して、製薬産業側がどのような成果を出し、社会に貢献すればその期待に応え、政府やアカデミアとのパートナーシップが円滑に進むのか、業界として発信すべき時期にある。

そこで、本ペーパーでは、製薬業の産業としての規模や経済貢献を定量的に示すことを目的に、「製薬産業の産業構造」「国民経済への貢献」「医薬品の経済・社会的貢献」「社会保障及び医療での位置づけ」について各種統計データを中心に推計を交えて指標を整理した。これらの指標では、製薬業の社会的な貢献も同時に提示するとともに、今後の課題感も提示した。

これらを踏まえ、製薬産業が政策的支援に応え、産業全体として社会・経済的貢献度が高く、国全体の経済成長に寄与する産業であることを示した。

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  
2026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](mailto:opir-sp@jpma.or.jp)

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

無断転載を禁ずる