

政策研ニュース No.78

OPIR Views and Actions

2026年7月

目次

目で見る製薬産業

アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 内海 拓郎
首席研究員 椿原 慎治……1

円・ドルからみた日本の医療用医薬品市場

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔
首席研究員 椿原 慎治
主任研究員 鍋島 竜介……12

Points of View

OECD レポートでみた OECD 加盟国の Patient-Reported
Outcome Measure (PROM) データの利活用状況

医薬産業政策研究所 首席研究員 椿原 慎治
主任研究員 鍋島 竜介
主任研究員 神地 沙織……22

近年の臨床開発における AI 活用の効果と課題の探索的調査
－被験者リクルートメントと臨床試験文書作成－

医薬産業政策研究所 主任研究員 枝廣 誠
主任研究員 日比野 翔
主任研究員 下山田浩平……33

政策研だより

主な活動状況（2026年3月～2026年6月）……42

レポート・論文紹介（2026年3月～）……43

政策研メンバー紹介 ……45

アンメット・メディカル・ニーズに対する 医薬品の開発状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 内海拓郎
首席研究員 椿原慎治

要約

- 明治薬科大学 社会薬学研究室が公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団から引き継ぎ2024年に実施した通算第7回目となる医療ニーズ調査¹⁾の結果を参考とし、日本国内における新医薬品の開発状況について分析した。
- 2025年11月時点で、60疾患を対象として内外資製薬企業20社が開発している新医薬品は368品目だった。治療満足度および薬剤貢献度ともに高い第1象限に含まれる疾患の開発状況は302品目（82.1%）と前回よりも集中度が増しており、今後更に向上することが予想される。
- 治療満足度および薬剤貢献度がともに低い第3象限に含まれる疾患は10疾患となった。全身性強皮症、多発性硬化症の2疾患が薬剤貢献度の上昇により第2象限に移行した一方で、今回の調査より追加されたアミロイドーシスと発達障害がそれぞれ含まれていた。
- モダリティ別に見ると、従来の抗体製剤に加え、多重特異性抗体、抗体薬物複合体が台頭し、核酸医薬、タンパク・ペプチド医薬の開発品も増加しており、更なるモダリティの多様化が進んでいた。
- 悪性腫瘍薬では、肺がん、乳がん、悪性リンパ腫、前立腺がんの4疾患でNME 開発数が多かった。悪性腫瘍薬全体の3分の1を占めていた肺がんはフェーズ3に開発品が集中しており、今後の承認取得や治療選択肢の拡大が期待され

る。今回の分析では非悪性腫瘍薬においてもモダリティの多様化が進んでいることが確認された。

- 第3象限から第2象限に改善した全身性強皮症、多発性硬化症では、前回調査後に上市した薬剤が診療ガイドラインで標準治療に位置付けられており、アンメット・メディカル・ニーズの充足に貢献していると考えられた。
- 第3象限10疾患における医薬品の承認状況は米国と差はなかったが、開発品では開発数ならびにモダリティの多様化に大きな差が生じていた。米国では製薬企業に加えてスタートアップによる開発が盛んにおこなわれていた。
- 第3象限疾患におけるスタートアップによる開発状況が日米で顕著に差があり、当該疾患における今後のドラッグラグ・ロスの拡大が懸念される。アンメット・メディカル・ニーズの充足には、日本のスタートアップの育成に加えて、製薬企業による創薬、有望なアセット導入への支援も重要な課題であると考えられた。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、明治薬科大学社会薬学研究室による医療ニーズ調査（第6回までは公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団が実施）をもとに、新薬の承認および開発パイプラインに関するデータを集計し、アンメット・メディカル・ニーズに対する製薬企業の取り組み状況を継

1) 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）

統的に分析してきた^{2) 3) 4)}。

前回実施された2019年度医療ニーズ調査に基づいた開発パイプラインの分析結果では、病因特異性の高い新規分子の発見と、これら分子に対する標的精度の高い化合物開発、そして革新的機序を有する新規モダリティ開発がアンメット・メディカル・ニーズ充足のための重要な因子であることが明らかとなった。モダリティ革新を背景に医薬品開発が急伸し、調査対象となる60疾患の多くが第1象限に移行したことにより、治療満足度および薬剤貢献度が向上し、医療ニーズの充足度が拡大してきていることを報告している。一方で、最後に開発品について分析した政策研ニュース No.70⁵⁾ (以下、前回の分析) では、第1象限疾患に開発が集中する中で、アンメット・メディカル・ニーズの象徴ともいえる第3象限疾患への開発の遅れが課題として浮き彫りになった。

本稿では、2024年度医療ニーズ調査結果に基づいて、新医薬品の開発状況を整理するとともに、アンメット・メディカル・ニーズ充足の鍵となる創薬技術革新のメルクマールであるモダリティの最新トレンドと政策課題である第3象限疾患における医薬品開発に焦点を当てて分析した。

2. 分析方法

2024年度医療ニーズ調査は、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。本調査では、「重篤な疾患」、「QOLを著しく損なう疾患」、「患者数の多い疾患」、「社会的に影響の多い疾患」等として選択された60疾患を対象としている。また、「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。

本稿における分析対象は前回までの開発品分析と同様、内外資製薬企業20社の国内開発品目（フェーズ1～申請中）とした。主とした情報ソースは、2025年11月末時点の各企業ホームページで開示している国内開発パイプライン情報⁶⁾とした。参考情報として、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」サイト、「明日の新薬（テクノミック制作）」サイト、独立行政法人医薬品医療機器総合機構ホームページの「治験情報の公開」サイトを用いた。第3象限疾患の開発状況では、各企業ホームページから集計した結果について2020年8月から2025年11月までの経時変化を比較した。また、「明日の新薬」による国内および米国の承認品・開発品の分析を行い、Cite-line社の「Pharmaprojects®」サイトを用いて企業の設立年、売上、本社所在地に関して調査し、スタートアップの定義付けを行った。

3. 結果

(1) 2024年度医療ニーズ調査における治療満足度・薬剤貢献度別にみた開発品の動向

図1は、2024年度医療ニーズ調査で、選択された60疾患に対する治療満足度（横軸）、薬剤貢献度

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.66 (2022年11月)

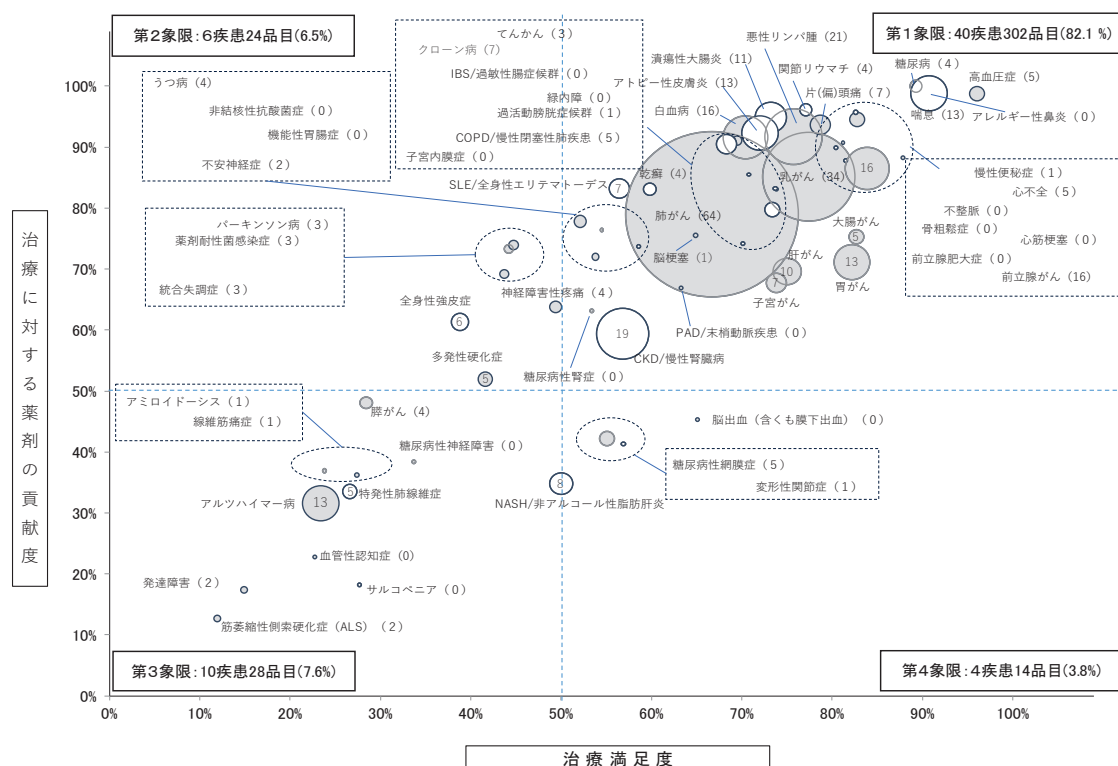
3) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.41 (2014年3月)、No.45 (2015年7月)、No.61 (2020年11月)

4) 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.69 (2023年7月)、No.77 (2026年3月)

5) 医薬産業政策研究所「アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況」政策研ニュース No.70 (2023年11月)

6) 対象企業はアステラス製薬、アストラゼネカ、エーザイ、大塚HD、小野薬品工業、グラクソ・スミスクライン、協和キリン、サノフィ、塩野義製薬、住友ファーマ、第一三共、武田薬品工業、田辺三菱製薬、中外製薬、日本イーライリリー、日本ベーリンガー・インゲルハイム、ノバルティスファーマ、バイエル薬品、ファイザー、MSD

図1 治療満足度・薬剤貢献度（2024年）別にみた新薬開発品目数（2025年11月末）



注：数字（括弧内含む）は開発品目数を示す。60疾患のうち異なる2疾患に同一薬剤を開発している場合は別々にカウントしている。

出所：明治薬科大学による調査結果、2025年11月末各企業HP国内開発パイプライン情報、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」、「明日の新薬（テクノミック制作）」、独立行政法人医薬品医療機器総合機構 HP「治験情報の公開」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

（縦軸）に沿って疾患をプロットし、数値と円の大きさに2025年11月末時点での開発品目数を示した。

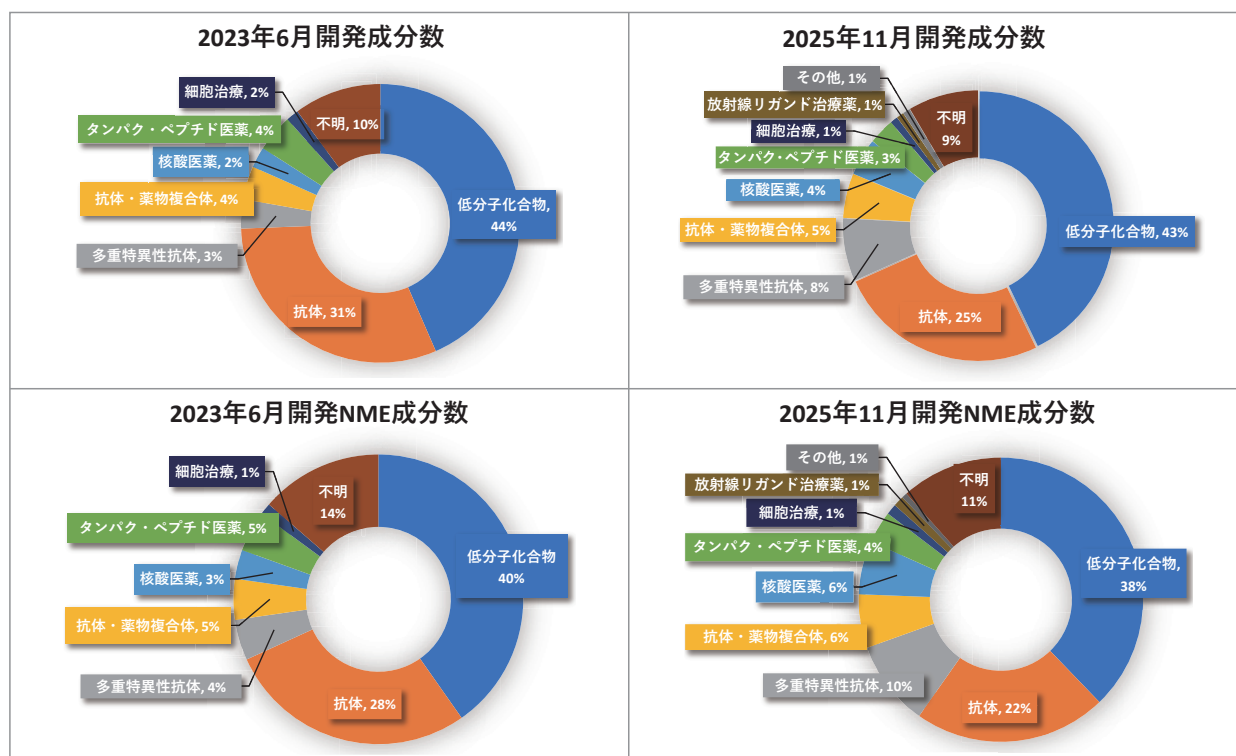
60疾患に関連する開発品目数を象限別にみると、治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以上である「第1象限」に含まれる疾患の開発品目が、40疾患、302品目（82.1%）と前回よりも更に医療ニーズの充足度が向上しており、その中でも悪性腫瘍性疾患が302品目中186品目（61.6%）と半数以上を占めていた。治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以下である「第3象限」に含まれる疾患では、全身性強皮症、多発性硬化症の2疾患で薬剤貢献度が上昇し第2象限へ移行した一方で、今回の調査より新規追加したアミロイドーシスと発達障害の2疾患がそれぞれ第3象限に入り、10疾患となった。その中でも膀胱がんは前回調査より2品目、アルツハイマー病は4品目の承認

があったが薬剤貢献度はそれほど上がっていなかった。またサルコペニア、線維筋痛症、血管性認知症の開発は依然として進んでいないことが明らかとなった。

（2）開発品におけるモダリティのトレンド

本節では、60疾患における内外資製薬企業20社の国内開発品をモダリティ別に分析した。2023年6月末に実施した前回の分析では、開発品の成分数は207品目で、そのうち新規化合物である（New Molecular Entity（以下、NME）は154品目だった。今回の2025年11月末の分析では、開発品の成分数は224品目、NMEは164品目であり開発品数は上昇していた。またモダリティごとに分類すると、図2に示している通り、低分子化合物は引き続き一定の存在感を示している一方で、開発の中心となりつつある抗体製剤はさらに多様化が進

図2 2023年6月および2025年11月の開発品におけるモダリティの変化



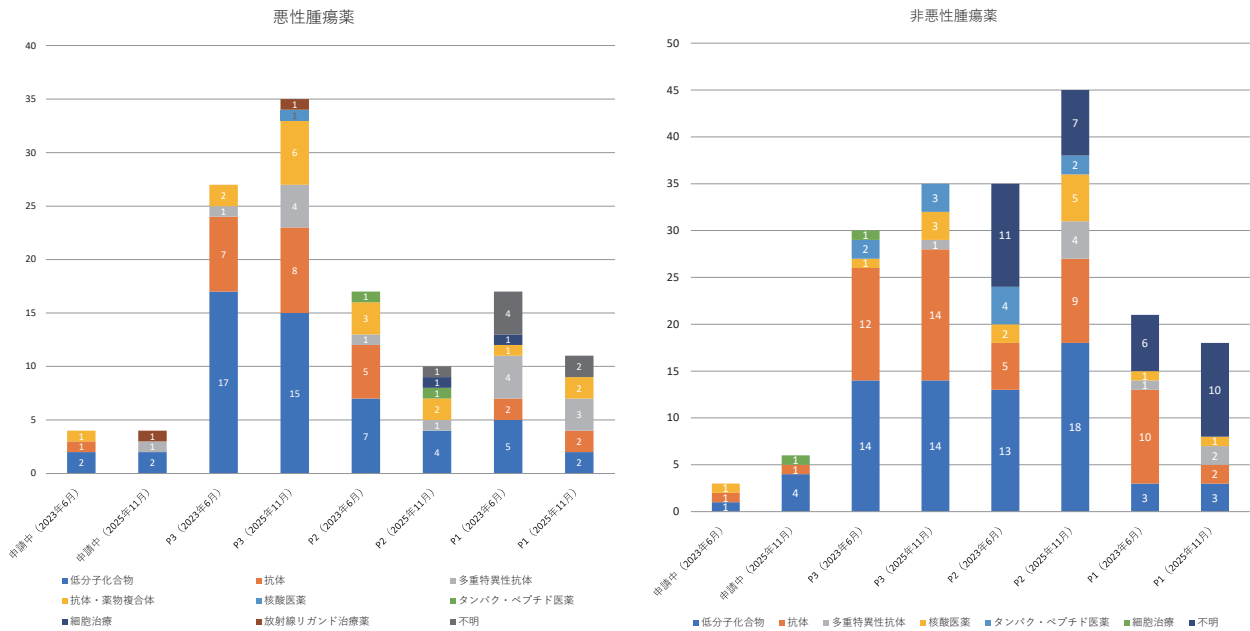
出所：明治薬科大学による調査結果、2025年11月末各企業HP国内開発パイプライン情報、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」、「明日の新薬（テクノミック制作）」、独立行政法人医薬品医療機器総合機構 HP「治験情報の公開」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

み、従来の抗体製剤に加え、多重特異性抗体、抗体薬物複合体が台頭してきていた。また前回の分析で悪性腫瘍薬において開発が進んでいた核酸医薬、タンパク・ペプチド医薬の開発品も増加しており、更なるモダリティの多様化が進んでいた。

図3のグラフは悪性腫瘍薬と非悪性腫瘍薬のNME開発数をステージ別にみたモダリティの変化を示している。悪性腫瘍薬では、前回の分析での考察通り、従来の抗体製剤に加え多重特異性抗体や抗体薬物複合体といった新技術の抗体製剤が台頭してきていた。また、フェーズ1～3のいずれにおいても、モダリティ構成が共通しており、ステージ間で大きな違いはみられなかった。非悪性腫瘍薬においても悪性腫瘍薬と同様のトレンドが確認された。フェーズ1、2ではモダリティの判別ができず不明の割合が高いが、多重特異性抗体、核酸医薬、タンパク・ペプチド製剤などの開発品が増加しており、今後も更なるモダリティの多様化が進んでくるものと思われる。

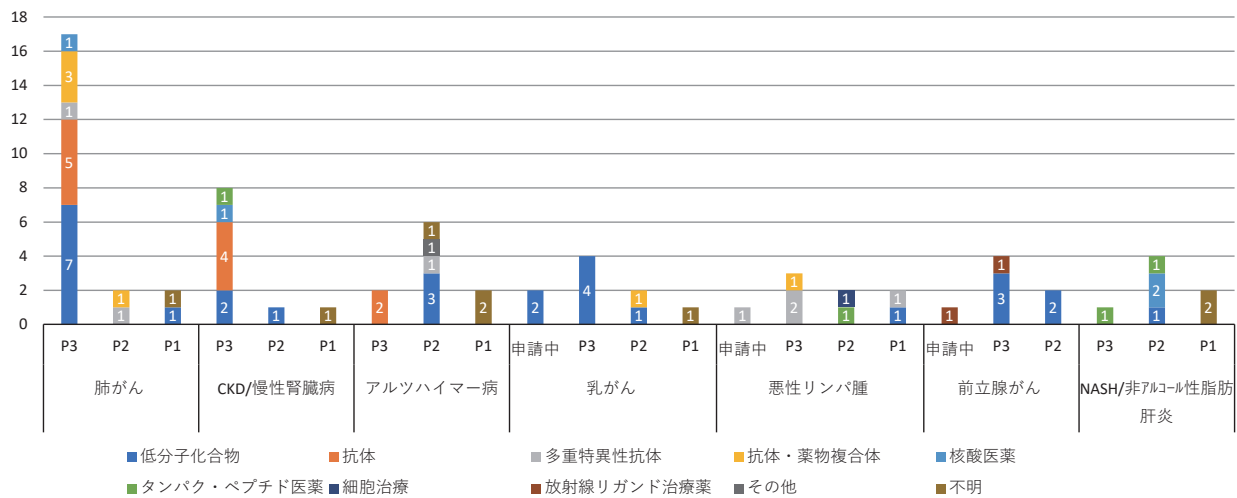
図4では、NME開発数の上位疾患別にみたモダリティの傾向を示している。悪性腫瘍薬では、肺がん、乳がん、悪性リンパ腫、前立腺がんの順でNME開発数が多く、悪性腫瘍薬60品目のうち肺がんだけで21品目の開発が進んでおり、3分の1を占めていた。肺がんではフェーズ3まで進んでいる開発品が多かったが、フェーズ1、2の品目数は他のがん種と同等であった。また、前立腺がんでは、放射線リガンド治療薬などの新たなモダリティが確認されており、さらなる多様化が進んでいた。悪性腫瘍以外の領域でも開発品が多い疾患ではモダリティの多様化が進んでいた。CKDは、ループス腎炎やIgA腎症などの疾患を含んだ定義としているため留意が必要だが、幅広いモダリティの開発品がフェーズ3に多く存在していた。またアルツハイマー病、非アルコール性脂肪肝炎（以下、NASH）においても開発品数は引き続き上位に位置していた。

図3 NME 開発品におけるステージ別にみたモダリティの変化



出所：明治薬科大学による調査結果、2025年11月末各企業HP国内開発パイプライン情報、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」、明日の新薬（テクノミック制作）、独立行政法人医薬品医療機器総合機構HP「治験情報の公開」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図4 NME 開発品数の上位疾患別にみたモダリティの傾向



出所：明治薬科大学による調査結果、2025年11月末各企業HP国内開発パイプライン情報、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」、「明日の新薬（テクノミック制作）」、独立行政法人医薬品医療機器総合機構HP「治験情報の公開」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

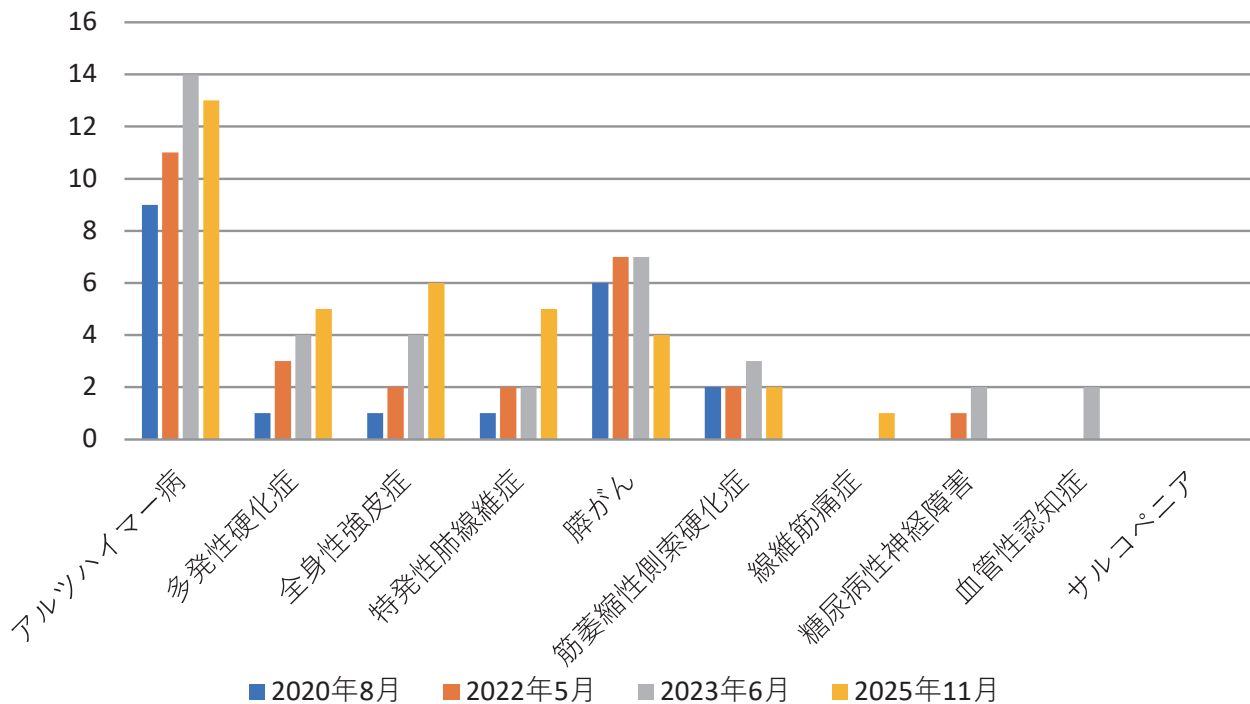
(3) 第3象限疾患の開発状況

1. 第3象限疾患における開発品の分析

本節では、政策課題である治療満足度および薬剤貢献度がともに50%以下である第3象限疾患について詳細な分析を行った。図5は内外資製薬企業20社の国内開発品について、2020年8月から

2025年11月までの経時変化を示している。多発性硬化症、全身性強皮症は、今回の医療ニーズ調査で薬剤貢献度が上昇し第2象限に移行した。両疾患ともに2020年以降開発品が継続的に増加しており、今後の更なる充足が期待される。一方で、前回の医療ニーズ調査から引き続き第3象限となっ

図5 第3象限疾患における国内開発品目数の推移



注：NME には承認時に新再生医療等製品に分類されるものも含む

出所：明治薬科大学による調査結果、2025年11月末各企業HP国内開発パイプライン情報、Japan Registry of Clinical Trials「臨床研究等提出・公開システム」、「明日の新薬（テクノミック制作）」、独立行政法人医薬品医療機器総合機構 HP「治験情報の公開」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

ていたのは8疾患だった。その中でもアルツハイマー病、膵がんにおいては他疾患と比較して継続して開発品が多い傾向がみられた。また、筋萎縮性側索硬化症も継続して一定の開発品が認められた。特発性肺線維症では近年開発品が増加しており、今後の承認動向を注目したい。サルコペニア、線維筋痛症、血管性認知症は継続して開発が進んでいないことが明らかとなった。

また今回の医療ニーズ調査より対象疾患に追加となったアミロイドーシスと発達障害には経時的なデータはないが、2025年11月末時点での開発品数は、アミロイドーシス1品目、発達障害2品目であった。

2. 薬剤貢献度が上昇した2疾患の分析

薬剤貢献度が上昇し第2象限に移行した多発性硬化症、全身性強皮症の2疾患について分析した。

多発性硬化症は、中枢神経系における免疫介在性の炎症性脱髄疾患であり、再発寛解型(RRMS)、一次進行型(PPMS)、二次進行型(SPMS)などの病型に分類される。根本的治療法は確立されていないが、疾患修飾薬を中心に開発が進んでいる。2019年に実施された前回の医療ニーズ調査後、SPMSにシボニモド フマル酸、RRMSとSPMSにオフアツムマブが新たに承認を取得している。多発性硬化症・視神経脊髄炎スペクトラム障害診療ガイドライン2023⁷⁾では、シボニモド フマル酸はSPMSに1Aで強く推奨されている。またオフアツムマブは高活動性(再発頻度、MRI活動性、Kurtzke総合障害度スケール、脳萎縮などを評価)のRRMS早期治療に2Cで弱く推奨、SPMSに1Bで強く推奨、再発・MRI活動性を有するSPMSに2Dで弱く推奨されている。※診療ガイドラインでは推奨の強さを「1：強い(実施するまたは

7) 日本神経学会監修 多発性硬化症・視神経脊髄炎スペクトラム障害診療ガイドライン2023
https://www.neurology-jp.org/guidelinem/pdf/koukasyo_nmosd_2023.pdf

実施しないことを推奨する)」、「2：弱い（実施するまたは実施しないことを提案する）」、エビデンスの確実性を「A：強い」、「B：中」、「C：弱」、「D：非常に弱い」と規定している。

全身性強皮症は、皮膚や内臓の硬化を特徴とする疾患であり、レイノー症状、皮膚硬化、その他の皮膚症状、肺線維症、強皮症腎クリーゼ、逆流性食道炎など様々な病態を呈し、それぞれの病態に即して薬剤選択が行われている。2019年に実施された前回の医療ニーズ調査後、リツキシマブとミコフェノール酸モフェチル（MMF）の2剤が新たに承認を取得している。全身性強皮症診療ガイドライン⁸⁾では、皮膚硬化に対しリツキシマブが1Aで強く推奨、MMFが2Bで弱く推奨されており、全身性強皮症に伴う間質性肺疾患には両剤ともに1Aで強く推奨されている。

多発性硬化症、全身性強皮症の2疾患ともに、診療ガイドライン上でも標準治療として位置づけられる薬剤の上市が、薬剤貢献度の上昇に影響した可能性が示唆された。

3. 第3象限疾患における日米の承認品、開発品の比較

前回の分析以降、第3象限疾患ではアルツハイマー病で3剤、筋萎縮性側索硬化症で1剤、アミロイドーシスで1剤が国内で承認された。第3象限疾患における詳細な開発状況を探るべく、2025年3月時点での「明日の新薬」の検索結果を活用し、内外資製薬企業20社以外の企業を含めて、承認、開発動向を米国と比較した。対象は全ての第3象限疾患としたが、糖尿病性神経障害は、神経障害性疼痛の適応の中に糖尿病性神経障害性疼痛が内包されるため分離不能と判断し、除外した。また比較対象国を広げることで、日本の承認薬が他国の開発薬に含まれるケースなどの影響を考慮し、米国のみとの比較とした。またスタートアップの定義は、確認できた直近の年間売上が50億ド

ル未満かつ創業後30年以内の企業とし、製薬企業との共同開発品はスタートアップ由来として換算した。また2026年3月までに合併が確認できた企業は合併先企業として換算した。

表1に示す通り、第3象限疾患における日米の承認状況には大きな差はなかったが、開発品数では顕著な差がでていた。米国の開発品の半数以上がスタートアップ起源であったことに対して、日本ではスタートアップの開発品は極僅かであり、両国の開発品数の差に大きく影響していた。スタートアップによる日本での医薬品開発の推進施策には依然として課題が残ることが示唆された。また、第3象限疾患における申請中も含めた日米のフェーズ3以降の開発品では、アルツハイマー病、筋萎縮性側索硬化症の2疾患を除くと、開発品全体に比べてフェーズ3以降の開発品にはまだ大きな差は出ていなかった。日本の開発品においては、日本企業による国内のみの開発品やドラッグラグによる米国承認品の開発品などの影響も含んでいることには留意が必要である。

ここで、第3象限の中でも開発品数が多かったアルツハイマー病、膵がん、筋萎縮性側索硬化症、特発性肺線維症の4疾患に絞ってモダリティ別に開発状況を分析した。

図6ではアルツハイマー病におけるモダリティ別の承認、開発状況の比較を示している。日米ともに初めての抗体製剤であるアミロイドβを標的としたレカネマブ、ドナネマブが承認され、治療選択肢が拡大している。米国で承認されているが日本では未承認のアルツハイマー病治療薬は、既存薬のプロドラッグと合剤のみで革新性はなく、実質的なドラッグラグ・ロスが存在していなかった。開発品は、前述した製薬企業20社に限定した分析と比較して国内外ともにモダリティの多様化が進んでいた。日本では、低分子化合物、抗体、多重特異性抗体、核酸医薬、ペプチド、ワクチンの開発が進んでいたが、米国ではそれに加えて、

8) 令和4年度厚生労働科学研究費補助金 疾病・障害対策研究分野 難治性疾患政策研究 強皮症・皮膚線維化疾患の診断基準・重症度分類・診療ガイドライン・疾患レジストリに関する研究 資料4 全身性強皮症診療ガイドライン（2023年版【予定】） https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/report_pdf/202211005A-sonota4_0.pdf

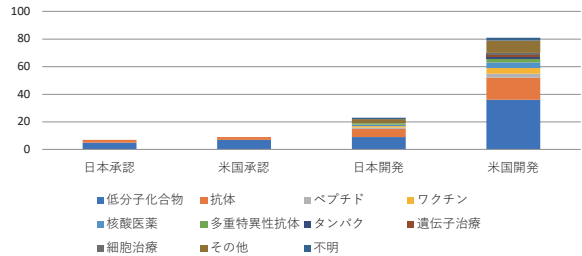
表1 第3象限疾患における日米の承認品、開発品の比較

承認品	日本			米国			日米差
疾患名	承認品	スタート アップ 承認品	スタート アップ率	承認品	スタート アップ 承認品	スタート アップ率	承認品 (米国-日本)
アルツハイマー病	7	0	0%	9	2	22%	2
膵がん	11	0	0%	7	1	14%	- 4
筋萎縮性側索硬化症	4	0	0%	3	0	0%	- 1
特発性肺線維症	2	0	0%	3	0	0%	1
アミロイドーシス	7	2	29%	7	3	43%	0
発達障害	6	0	0%	10	2	20%	4
サルコペニア	0	0	-	0	0	-	0
線維筋痛症	2	0	0%	3	0	0%	1
血管性認知症	0	0	-	0	0	-	0
疾患計	39	2	5%	42	8	19%	3

開発品	日本				米国				日米差	
疾患名	開発品	P3以降 開発品	スタート アップ 開発品	スタート アップ率	開発品	P3以降 開発品	スタート アップ 開発品	スタート アップ率	開発品 (米国-日本)	P3以降 (米国-日本)
アルツハイマー病	23	7	2	9%	81	19	47	58%	58	12
膵がん	19	6	6	32%	84	7	60	71%	65	1
筋萎縮性側索硬化症	10	1	3	30%	32	10	26	81%	22	9
特発性肺線維症	12	2	2	17%	36	2	22	61%	24	0
アミロイドーシス	7	6	2	29%	11	5	4	36%	4	- 1
発達障害	3	3	0	0%	25	6	17	68%	22	3
サルコペニア	0	0	0	-	2	1	2	100%	2	1
線維筋痛症	0	0	0	-	4	2	4	100%	4	2
血管性認知症	0	0	0	-	0	0	0	-	0	0
疾患計	74	25	15	20%	275	52	182	66%	201	27

注：製薬企業とスタートアップの共同開発の場合はスタートアップに換算
スタートアップの定義は、直近の年間売上50億ドル未満かつ創業後30年以内の企業
出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」により得られたデータを、日本企業は各企業のHP、海外企業はCiteline社のPharmaprojects®で創立年、本社所在地、売上高をもとに医薬産業政策研究所にて作成

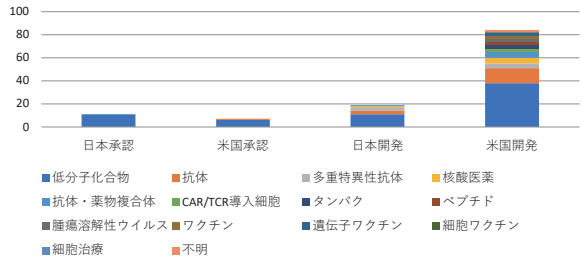
図6 アルツハイマー病における承認品、開発品の日米の比較



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

細胞治療、遺伝子治療、タンパク製剤の開発が試みられており、各々の開発数にも大きな差があった。

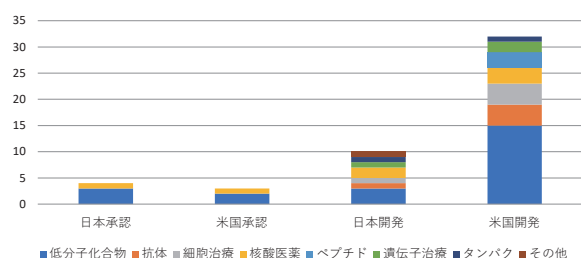
図7 膵がんにおける承認品、開発品の日米の比較



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図7では膵がんにおけるモダリティ別の承認、開発状況の比較を示す。特筆すべきは、膵がんに対する初の多重特異性抗体であり、日本で現在開

図8 筋萎縮性側索硬化症における承認品、開発品の日米の比較



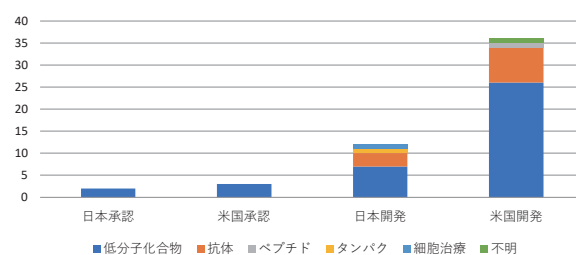
出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

発されている Zenocutuzumab が米国では承認となっている点である。現在、両国で承認されている膵がん治療薬は主に低分子化合物だが、開発品のモダリティは多様化が進んでおり、特に米国が顕著であった。日本では、低分子化合物、抗体、多重特異性抗体、抗体薬物複合体、核酸医薬の開発が進んでいるが、米国ではそれに加えて、CAR/TCR 導入細胞、タンパク、ペプチド、腫瘍溶解性ウイルス、ワクチン、細胞治療など幅広いモダリティの開発が進んでおり、日米の開発状況でモダリティの多様性に大きな差が出ていた。

図8では筋萎縮性側索硬化症におけるモダリティ別の承認、開発状況の比較を示す。本疾患に対する承認品は低分子化合物が中心であり、日米で大きな差はなかった。米国承認品で日本が未承認のものはなく、逆に日本では医師主導治験の結果を受け、企業が申請し昨年承認を受けたメコバラミンが治療薬のラインアップに追加された。これは国内の産官学連携の成功事例である。開発品では、日米ともにモダリティの多様化が進んでいるが、開発数では米国が大きくリードしていた。現在、日米欧の同時申請に備えるべく日本医療研究開発機構（以下、AMED）の研究班により、治験の国際連携や最先端の評価手法に対応するための「筋萎縮性側索硬化症 治療薬臨床評価ガイドライン」が欧米と同様に整備されつつある。

図9では特発性肺線維症におけるモダリティ別の承認、開発状況の比較を示す。承認品は日米ともに低分子化合物のみで、承認数には大きな差はなかった。前述の疾患と同じく、開発品は日米ともにモダリティの多様化が進んでいるが、開発数

図9 特発性肺線維症における承認品、開発品の日米の比較



出所：「明日の新薬（テクノミック制作）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

では米国が大きく上回っている。日本のみで進んでいる開発品も確認されており、これらは日本のスタートアップによるタンパク医薬と医師主導治験による細胞治療であった。

4. まとめ・考察

(1) 2024年度医療ニーズ調査における治療満足度・薬剤貢献度別にみた開発品の動向

60疾患に関連する開発品は、治療満足度および薬剤貢献度がともに高い第1象限に40疾患、302品目（82.1%）と集中しており、医療ニーズの充足度は今後更に向上することが予想される。また第3象限から第2象限に移行した全身性強皮症、多発性硬化症では、継続して開発品が増えてきていることから、次の調査機会では更なる治療満足度、薬剤貢献度の向上が期待される。一方で、今回の医療ニーズ調査より追加となったアミロイドーシスと発達障害を含め10疾患が治療満足度および薬剤貢献度がともに低い第3象限に含まれており、対象疾患における開発品の推移やモダリティの変遷を引き続き注視していく必要がある。またNASHでは前回調査時点で複数の開発品が確認できていたが、未だ承認品がなく第3象限の狭間の位置に移行している。海外では甲状腺ホルモン受容体β選択的アゴニストやGLP-1受容体作動薬が待望の新薬として承認されており、今後の国内での承認動向も注視していきたい。

(2) 開発品におけるモダリティのトレンド

国内開発品におけるモダリティのトレンドは、悪性腫瘍薬、非悪性腫瘍薬ともに多様化が進んで

おり、今後もこのトレンドが継続すると考えられる。悪性腫瘍薬では、肺がん、乳がん、悪性リンパ腫、前立腺がんの4疾患でNME開発数が多く、放射線リガンド治療剤など、新たなモダリティも確認されている。特に悪性腫瘍薬全体の3分の1を占めていた肺がんでは開発品がフェーズ3に集中しており、近い将来、新たな承認薬による医療ニーズの更なる充足度の向上が進んでくると考えられた。非悪性腫瘍薬では、CKDで幅広いモダリティの開発品がフェーズ3に多く存在しており、今後の承認動向に注目したい。またアルツハイマー病、NASHでは、開発難易度が高くこれまで承認に至った開発品は他疾患と比較して少ないが、開発品数は依然上位に位置し、モダリティの多様化も進んでいるため、標準治療となる承認品の上市による薬剤貢献度の向上に期待したい。

(3) 第3象限疾患の開発状況

第3象限10疾患の中でも、アルツハイマー病、肺がんでは前回調査から複数の承認があったが、薬剤貢献度はそれほど上がっていなかった。アルツハイマー病では病因の一つとされるアミロイドβを標的とする薬剤が承認となったが、2023年12月以降の発売であったことから今回の調査では十分に反映できなかったと考えられた。アルツハイマー病の根本治療は始まったばかりであり、世界的な社会課題である認知症の医療ニーズ調査は今後も継続されるべきものと思われる。特発性肺線維症は、近年急速に開発品が増加している。本分析結果には反映できていないが、米国で2025年10月に承認された待望の新規作用機序となるホスホジエステラーゼ4B阻害剤であるネランドミラストが日本ではこれまで申請中の段階にあったが、この5月に承認を取得した⁹⁾。今後の診療ガイドラインにおける位置けにも注目したい。前回の分析で課題としていたサルコペニア、線維筋痛症、血管性認知症の開発は依然として進んでいないことが明らかとなった。僅かではあるが海外ではスタートアップ企業による開発が確認できているこ

とから、内外資製薬企業20社に拘らず、開発状況を注視していく必要があると考えられた。また今回の医療ニーズ調査より追加になったアミロイドシスと発達障害の2025年11月末時点での開発品数は、アミロイドシス1品目、発達障害2品目であったが、今後の開発動向についてフォローアップしていきたい。

第3象限から第2象限に移行した全身性強皮症、多発性硬化症では、前回の医療ニーズ調査後に上市した薬剤が診療ガイドラインで標準治療に位置付けられており、アンメット・メディカル・ニーズの充足に貢献していると考えられた。特に全身性強皮症では、学会要望による未承認薬検討会議からの公知承認やAMED資金による医師主導治験結果を用いた承認など、アンメット・メディカル・ニーズの充足に向けた公的支援の成功例といえる。今後、更なる充足に向けて、産官学連携による開発推進に期待したい。

第3象限10疾患における医薬品の承認・開発状況について米国と比較した。承認状況は米国と差はなかったが、開発品では開発数ならびにモダリティの多様化に大きな差が生じていた。日本における開発の主役は製薬企業が担っていたが、米国では製薬企業に加えてスタートアップによる開発が盛んにおこなわれていることが影響していた。特にサルコペニアや線維筋痛症など開発品が少ない疾患ほど、スタートアップによる開発に依存していた。またフェーズ3以降のステージまで開発が進んでいる品目を比較したところ、アルツハイマー病、筋萎縮性側索硬化症では既に差が生じており、今後、有望なアセットの導入や海外のスタートアップの誘致が必要になると考えられた。この2疾患以外では大きな差はなかったが、その背景には、製薬企業が担っている開発品には日米に大きな差異は見られなかったこと、スタートアップの開発品の多くがフェーズ1、2のステージにあったことが挙げられる。今後想定されるドラッグラグ・ロスの抑制には、持続的な国内創薬エコシステムの構築が必要であり、スタートアップの育

9) 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構HP <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuDetail/GeneralList/39990G0>

成に加えて、製薬企業による創薬、有望なアセット導入への支援が重要であると考えられた。本年より AMED と日本製薬工業協会の協力のもと立ち上がった AMED IND ENGINE (AND-E)¹⁰⁾ による産官学連携を通して、スタートアップならびに製薬企業による革新的新薬創出の後押しに繋がっていくことを期待する。

5. おわりに

医療ニーズ調査の対象とした60疾患では3分の

2となる40疾患でアンメット・メディカル・ニーズの充足が進んでいるが、まだ多くの疾患で課題が山積している。今回の分析で、産官学連携による開発の推進、国内のスタートアップの育成、日本の製薬企業による創薬や有望なアセット導入への支援も重要であると考えられた。将来的なドラッグラグ・ロスを抑制し、必要な医療を迅速に社会に届けるため、国内における創薬エコシステムの構築が急がれる。

10) AMED IND ENGINE (AND-E) <https://www.amed.go.jp/content/000155121.pdf>

円・ドルからみた日本の医療用医薬品市場

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔
首席研究員 椿原慎治
主任研究員 鍋島竜介

要約

- 10年間の日本円（以下、円）でみる国内医療用医薬品売上高（以下、国内売上高）のAPC（Annual Percent Change：以下、国内売上高 APC）は0.9%、GDP デフレーターで実質化した APC（以下、実質売上高 APC）は -0.2% であり、15年間の国内売上高 APC 1.4%、実質売上高 APC 0.6%と比べ低かった。また、日本国籍企業だけでみると国内売上高 APC 0.1%、実質売上高 APC -0.9%であり、15年間でみた日本国籍企業の国内売上高 APC 0.7%、実質売上高 APC -0.1%と比べて著しく低下していた。
- 10年間の円でみる日本製薬工業協会（以下、製薬協）会員企業に限定した国内売上高 APC は 0.7%、実質売上高 APC は -0.3% であり、15年間の製薬協会員企業に限定した国内売上高 APC 0.9%、実質売上高 APC 0.1% より低かった。また、10年間における製薬協会員である日本国籍企業の国内売上高 APC は -0.5%、実質売上高 APC は -1.5% であり、15年間の製薬協会員である日本国籍企業の国内売上高 APC -0.1%、実質売上高 APC -0.9% をさらに下回って推移していた。
- 15年間の円でみる国内売上高推移は緩やかな増

加傾向にあった。一方、米ドル換算でみる国内売上高上位70社の売上高推移は2011年より持続的な減少傾向にあり、とりわけ近年においては減少が著しく、同じ日本市場ではありながら、円でみる推移と明らかな違いを示していた。

1. はじめに

近年、日本の医薬品市場は縮小し、日本での開発・投資の魅力が減少していると言われている。そのため、各国の製薬企業が日本での開発・投資意欲を減少させ、日本市場でのドラッグラグ・ロスのリスクとなる可能性が示唆されている¹⁾。そこで本調査では、実際にどの程度日本の医薬品市場が縮小しているのかを日本円（以下、円）、米ドル（以下、ドル）の双方から分析、可視化することを目的とした。

また、売上高推移のほか、年平均変化率（Annual Percent Change：以下 APC）、消費者物価指数²⁾ および名目・実質 GDP³⁾ の変化率推移、購買力平価（Purchasing Power Parity：以下、PPP）⁴⁾ を併記し分析、可視化を補完した。さらに国内売上高の APC（以下、国内売上高 APC）を GDP デフレーターで実質化し（以下、実質売上高 APC）、物価変動の影響を取り除いて実際の変化をみるこ

1) 日本のドラッグロスとドラッグラグ：現状分析と再生への提案、東京財団、July 3、2024、日本のドラッグロスとドラッグラグ：現状分析と再生への提案 | 研究プログラム | 東京財団（参照：2026/05/13）
2) e-Stat（消費者物価指数）、消費者物価指数 2020年基準消費者物価指数 月報 月次 2026年 3 月 | ファイル | 統計データを探す | 政府統計の総合窓口（参照：2026/05/18）
3) 国民経済計算（GDP 統計）、<https://www.esri.cao.go.jp/jp/sna/menu.html>（参照：2026/05/18）
4) 公益財団法人 国際通貨研究所、<https://www.iima.or.jp/research/ppp.html>（参照：2026/05/25）

とに努めた。

なお、医薬品市場の分析・可視化については本調査の対象となる円・ドル換算の医療用医薬品の売上高に焦点を当てており、知的財産関連収益、提携やディール関連収益、サービス・受託収益、金融・投資関連収益などは売上高に含めていない。そのため、日本企業が海外企業から導入した医薬品の国内売り上げは日本国籍企業の売り上げになっており、逆に日本国籍企業が海外企業に導出した海外での売り上げは、世界市場での日本企業の売り上げにはなっていない。

日本の医薬品市場では、2010～2014年に新薬創出・適応外薬解消等促進加算の導入⁵⁾、ジェネリック医薬品推進政策の本格化⁶⁾、市場拡大再算定の運用強化などが行われた。2015年以降では「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」⁷⁾が2016年に関係4大臣により決定された。これらの政策を鑑み、調査対象期間として、2010～2024年の15年間と2015～2024年の10年間を設定した。

2. 調査方法

2010年から2024年までのドル換算でみる世界医療用医薬品売上高（以下、世界売上高）推移と日本の医療用医薬品売上高の割合、ドル換算でみる世界売上高上位100社の国籍別売上高と国籍別企業数、ドル換算でみる国内医療用医薬品売上高（以下、国内売上高）上位70社の国籍別売上高と国籍別企業数については、IQVIA World Review Analyst, IQVIA JPM, Data Period 2010-2024（2026年3月時点）に掲載されたリストをもとに医薬産業政策研究所にて作成した。世界の売上高上位100社、国内売上高上位70社という指標はIQVIA World Review Analyst, IQVIA JPM から得られる数値をもとに、医薬産業政策研究所にて毎年更新しているデータベースの最大値を用いた。

加えて、2010～2024年、2015～2024年の本社国

籍別国内医療用医薬品売上高推移および日本製薬工業協会（以下、製薬協）会員企業の本社国籍別国内医療用医薬品売上高推移、APCについてはIQVIA JPM, Data Period 2010-2024（2026年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成した。

APCは、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。APCは小数点第2位を四捨五入した。参考として、GDPデフレーターAPC（ $\div$ 名目GDPのAPC－実質GDPのAPC）から、以下の数式で売上高APCを実質化した。

実質売上高 APC

$$= \text{売上高 APC} - \text{GDP デフレーター APC}$$

また、JPM の企業国籍については、各社 HP、Evaluate Pharma[®]（2026年5月時点）より調査し、消費者物価指数変化率はe-Stat（消費者物価指数）、名目・実質GDP変化率は国民経済計算（GDP統計）より集計した。

IQVIA World Review Analyst は四半期毎に定めた平均レートを使用し、価格レベルは工場出荷価格レベルで表示、IQVIA JPMは月平均レートを使用し、価格レベルは消費者価格レベルで表示した。

3. 結果

(1) 国内市場

① 15年間の円でみる本社国籍別 国内医療用医薬品売上高推移

図1では、15年間（2010-2024年）の円でみる国内売上高の推移を棒グラフにて、2010年に対する消費者物価指数変化率、名目GDP、実質GDPの変化率を折れ線グラフにて、本社国籍別の国内売上高APCを右の表にて示す。

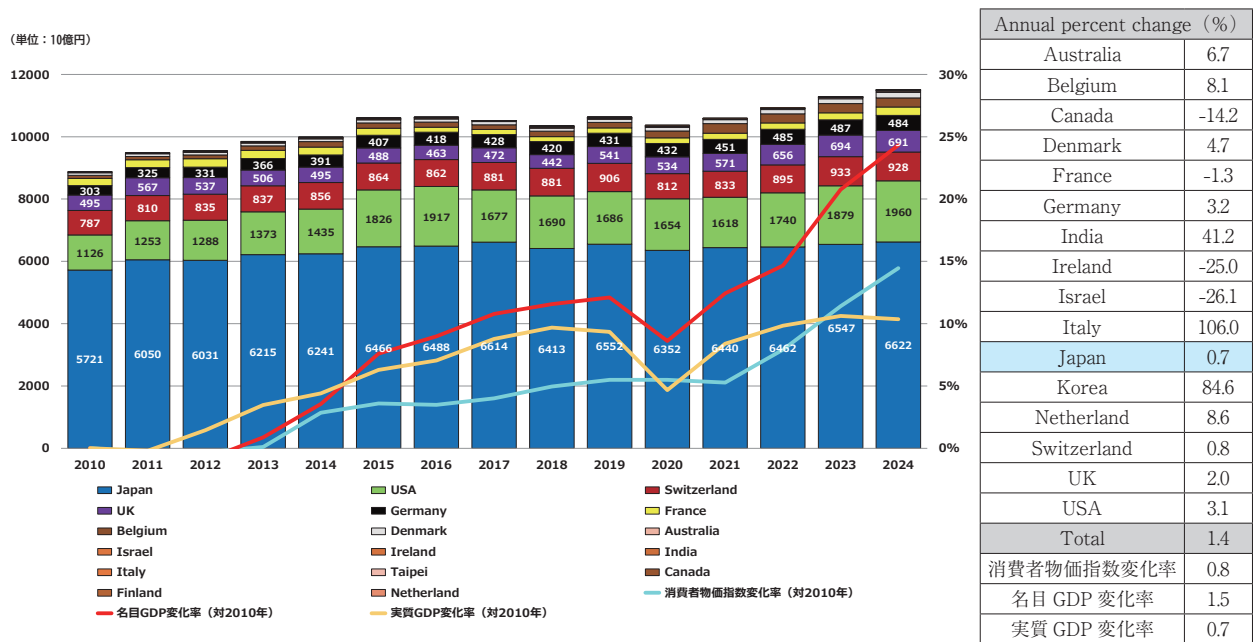
国内売上高APCは1.4%であり15年間で緩やかに増加していた。日本国籍企業の国内売上高APCは0.7%であり、国内売上高APCを下回っていた。

5) 新薬創出・適応外薬解消等促進加算について、中医協、0000177146.pdf（参照：2026/05/25）

6) 後発医薬品（ジェネリック医薬品）及びバイオ後続品（バイオシミラー）の使用促進について、厚生労働省、後発医薬品（ジェネリック医薬品）及びバイオ後続品（バイオシミラー）の使用促進について | 厚生労働省（参照：2026/05/25）

7) 「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」、平成28年12月20日【資料3】薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（参照：2026/05/13）

図1 15年間の円でみる本社国籍別 国内売上高推移



出所：Copyright©2026 IQVIA. IQVIA JPM, Data Period 2010-2024（2026年3月時点）、各社HP、Evaluate Pharma®（2026年5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）
 消費者物価指数変化率：e-Stat（消費者物価指数）、名目・実質 GDP 変化率：国民経済計算（GDP 統計）

また、国内売上高の実質売上高 APC は0.6%、日本国籍企業の実質売上高 APC は -0.2%であり、実質売上高 APC でみると日本国籍企業においてはマイナス成長となっていた。

国内売上高上位の企業国籍（以下、上位企業国籍：売上高の多い順に日本、米国、スイス、英国、ドイツ、フランス、ベルギー、デンマーク）のうち、日本の国内売上高 APC および実質売上高 APC を下回ったのはフランスのみであった（国内売上高 APC -1.3%、実質売上高 APC -2.1%）。

② 10年間の円でみる本社国籍別 国内売上高推移

図2では、10年間の円でみる国内売上高推移を示す。15年間から10年間へと期間を短縮し推移をみることで2015年以降の政策⁷⁾や企業活動の影響が数値により反映されることを意図している。

10年間の国内売上高 APC は0.9%、実質売上高 APC は -0.1%であり、15年間の国内売上高 APC 1.4%、実質売上高 APC 0.6%（図1）と比べ低い変化率であった。これは10年間でみた国内医薬品

市場が15年間の時よりも更に鈍化していたことを示している。

また、日本国籍企業だけでみると国内売上高 APC は0.1%、実質売上高 APC -0.9%であり、15年間でみた日本国籍企業の国内売上高 APC 0.7%、実質売上高 APC -0.1%（図1）と比べて低かった。このことは、本来国内の医療用医薬品市場を牽引する立場の日本国籍企業が直近10年間でさらに厳しい状況にあったことを示している。

15年間で国内売上高 APC -1.3%、実質売上高 APC -2.1%であったフランス国籍企業は10年間でみると国内売上高 APC 3.8%、実質売上高 APC 2.8%とプラスに転じていた、国内売上高上位企業の中で、日本国籍企業の国内売上高 APC、実質売上高 APC は最も低かった。

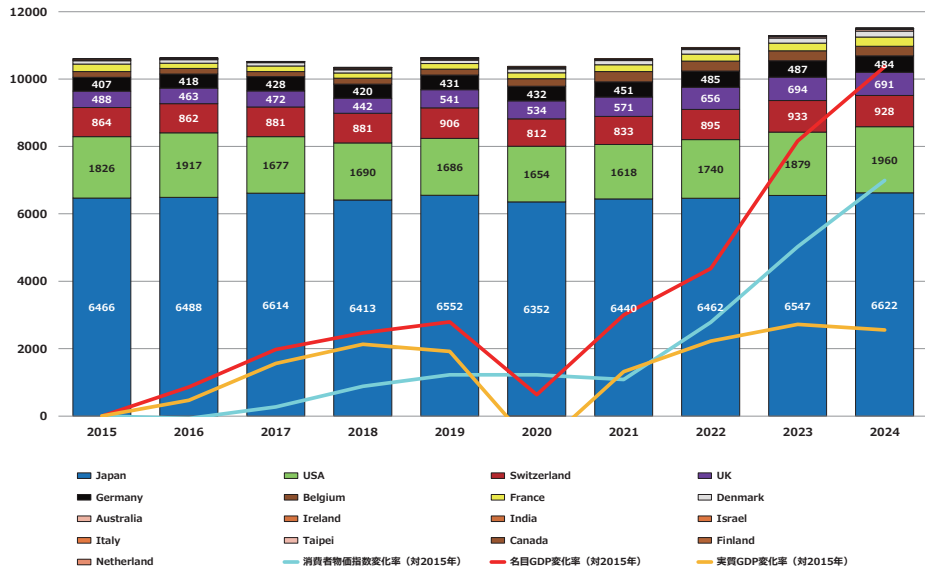
③ 15年間の円でみる製薬協会企業 本社国籍別 国内売上高推移

図3では、15年間の円でみる国内売上高推移を製薬協会企業⁸⁾に限定し本社国籍別で示す。製

8) 日本製薬工業協会 HP、会員会社一覧 | 会員会社 | 日本製薬工業協会（参照：2026/05/13）

図2 10年間の円でみる本社国籍別 国内売上高推移

(単位: 10億円)

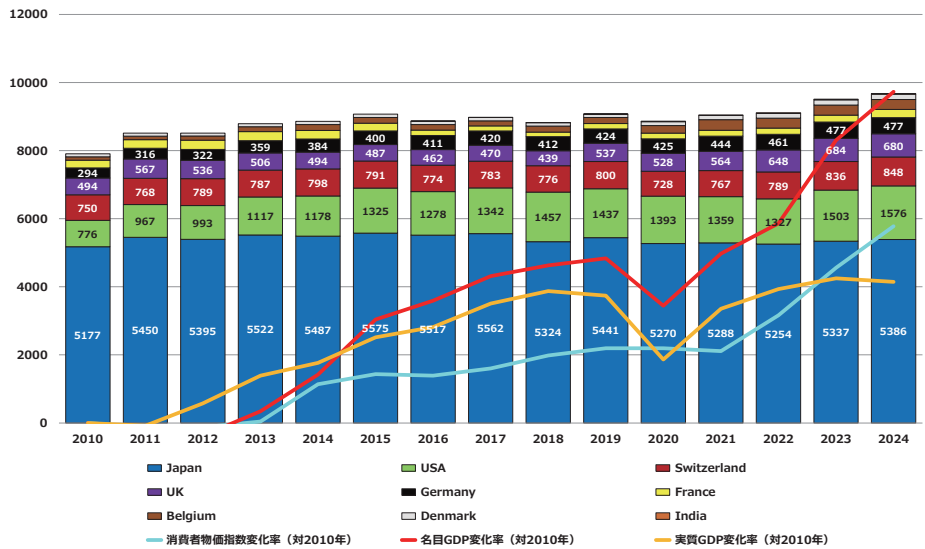


Annual percent change (%)	
Australia	9.7
Belgium	8.9
Canada	-14.2
Denmark	6.9
France	3.8
Germany	2.1
India	297.9
Ireland	-44.2
Israel	-38.5
Italy	106.0
Japan	0.1
Korea	84.6
Netherland	8.6
Switzerland	0.6
UK	5.2
USA	0.3
Total	0.9
消費者物価指数変化率	1.0
名目 GDP 変化率	1.3
実質 GDP 変化率	0.3

出所: Copyright©2026 IQVIA, IQVIA JPM, Data Period 2015-2024 (2026年3月時点)、各社HP、Evaluate Pharma® (2026年5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)
 消費者物価指数変化率: e-Stat (消費者物価指数)、名目・実質 GDP 変化率: 国民経済計算 (GDP 統計)

図3 15年間の円でみる製薬協会企業 本社国籍別 国内売上高推移

(単位: 10億円)



Annual percent change (%)	
Belgium	8.1
Denmark	4.3
France	-2.3
Germany	3.2
India	219.4
Japan	-0.1
Switzerland	0.4
UK	1.8
USA	3.9
Total	0.9
消費者物価指数変化率	0.8
名目 GDP 変化率	1.5
実質 GDP 変化率	0.7

出所: Copyright©2026 IQVIA, IQVIA JPM, Data Period 2010-2024 (2026年3月時点)、各社HP、Evaluate Pharma® (2026年5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)
 消費者物価指数変化率: e-Stat (消費者物価指数)、名目・実質 GDP 変化率: 国民経済計算 (GDP 統計)

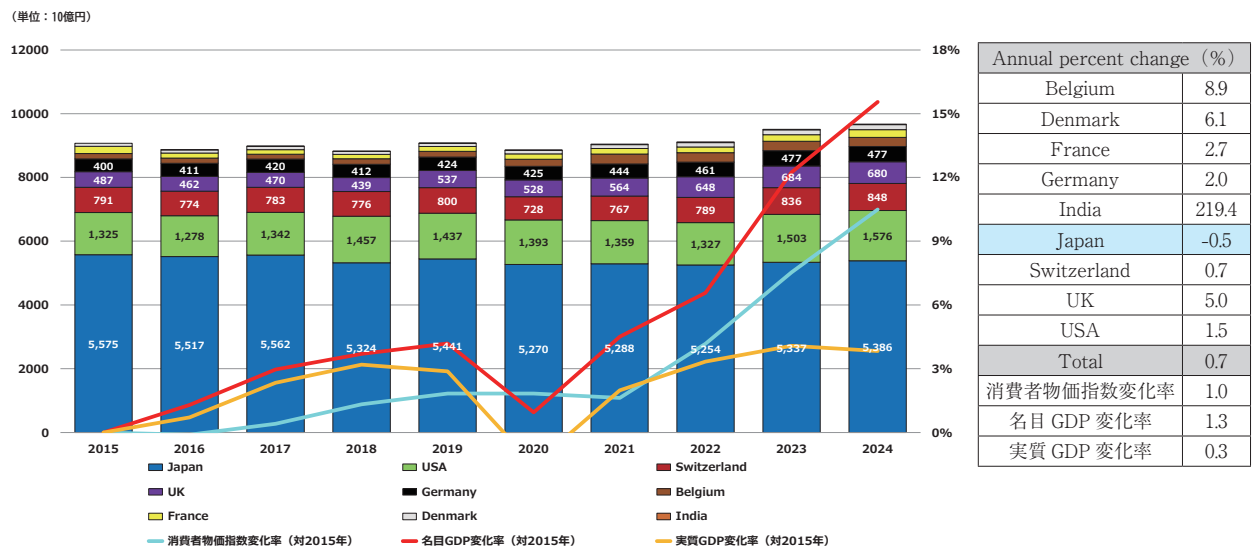
薬協は研究開発志向型の製薬企業68社 (2026年4月1日現在) が加盟する団体⁹⁾であり、製薬協会企業に限定することで、新薬の創薬環境が数値

により反映されることを意図している。

製薬協会企業に限定した国内売上高 APC は 0.9%、実質売上高 APC 0.1% であり、図1で示し

9) 日本製薬工業協会 HP、製薬協とは | 製薬協の概要 | 日本製薬工業協会 (参照: 2026/05/20)

図4 10年間の円でみる製薬協会員企業 本社国籍別 国内売上高推移



出所：Copyright©2026 IQVIA. IQVIA JPM, Data Period 2015-2024 (2026年3月時点)、各社HP、Evaluate Pharma® (2026年5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）

消費者物価指数変化率：e-Stat（消費者物価指数）、名目・実質 GDP 変化率：国民経済計算（GDP 統計）

た製薬協会員以外も含まれる15年間の国内売上高 APC 1.4%、実質売上高 APC 0.6% を下回っていた。さらに、製薬協会員企業のうち日本国籍企業の国内売上高 APC は -0.1%、実質売上高 APC -0.9% とマイナス成長となっており、図1の製薬協会員以外も含まれる15年間の日本国籍企業の国内売上高 APC 0.7%、実質売上高 APC -0.1% との乖離が大きく、低値での推移となっており、日本市場は製薬協会員の日本国籍企業にとってより厳しい市場環境であることを示していた。

④ 10年間の円でみる製薬協会員企業 本社国籍別 国内売上高推移

図4では、10年間の円でみる製薬協会員企業の国内売上高推移を示す。

製薬協会員企業に限定した10年間における国内売上高 APC は0.7%、実質売上高 APC は -0.3% であり、図3で示した15年間の製薬協会員企業に限定した国内売上高 APC 0.9%、実質売上高 APC 0.1%より低かった。また、10年間における製薬協会員である日本国籍企業の国内売上高 APC は -0.5%、実質売上高 APC は -1.5% であり、15年間の製薬協会員である日本国籍企業の国内売上高 APC -0.1%、実質売上高 APC -0.9% をさらに下回

って推移していた。

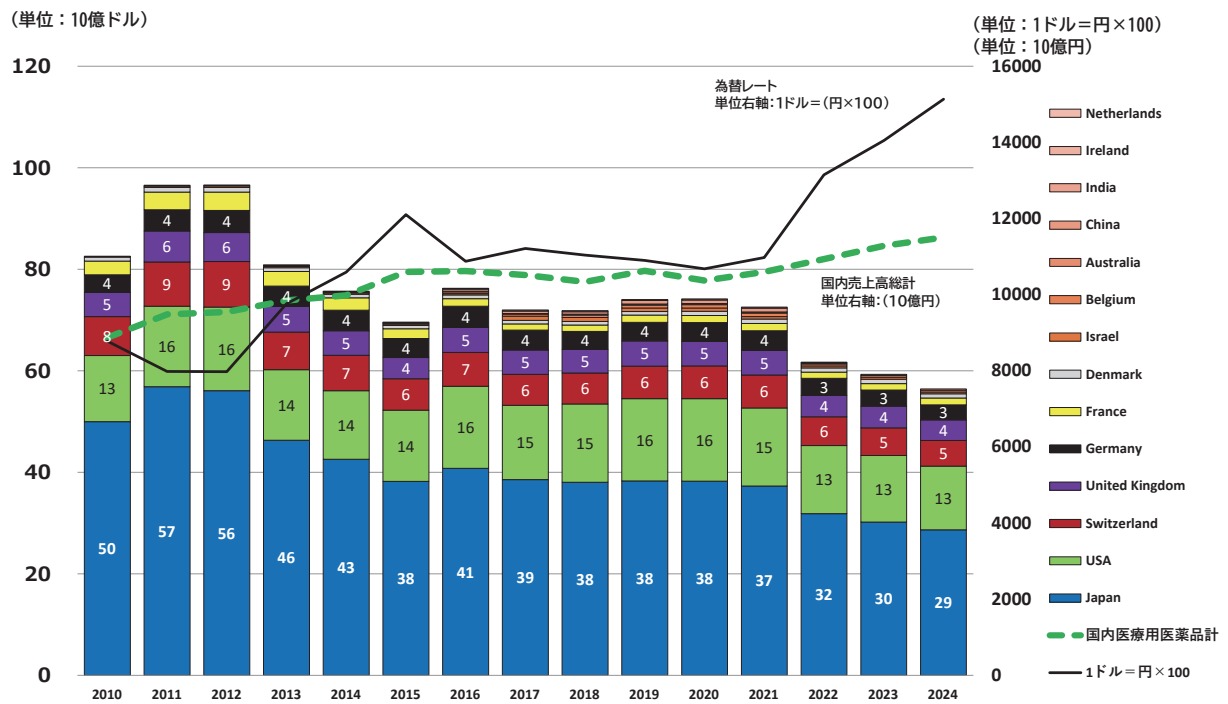
10年間の円でみる製薬協会員企業に限定した国内市場において、外国籍の会員企業全てがプラスの国内売上高 APC、スイスを除く多国籍の会員企業の実質売上高 APC がプラスを示していた中で、製薬協会員の日本国籍企業は際立つマイナス成長となっていた。

「15年間よりも10年間」「研究開発型が中心の製薬協会員企業」そして「外国籍企業よりも日本国籍企業」にとって、円でみる国内の市場環境はより厳しく、マイナス成長もみられた。

⑤ 15年間のドル換算による国内売上高上位70社の国籍別売上高推移

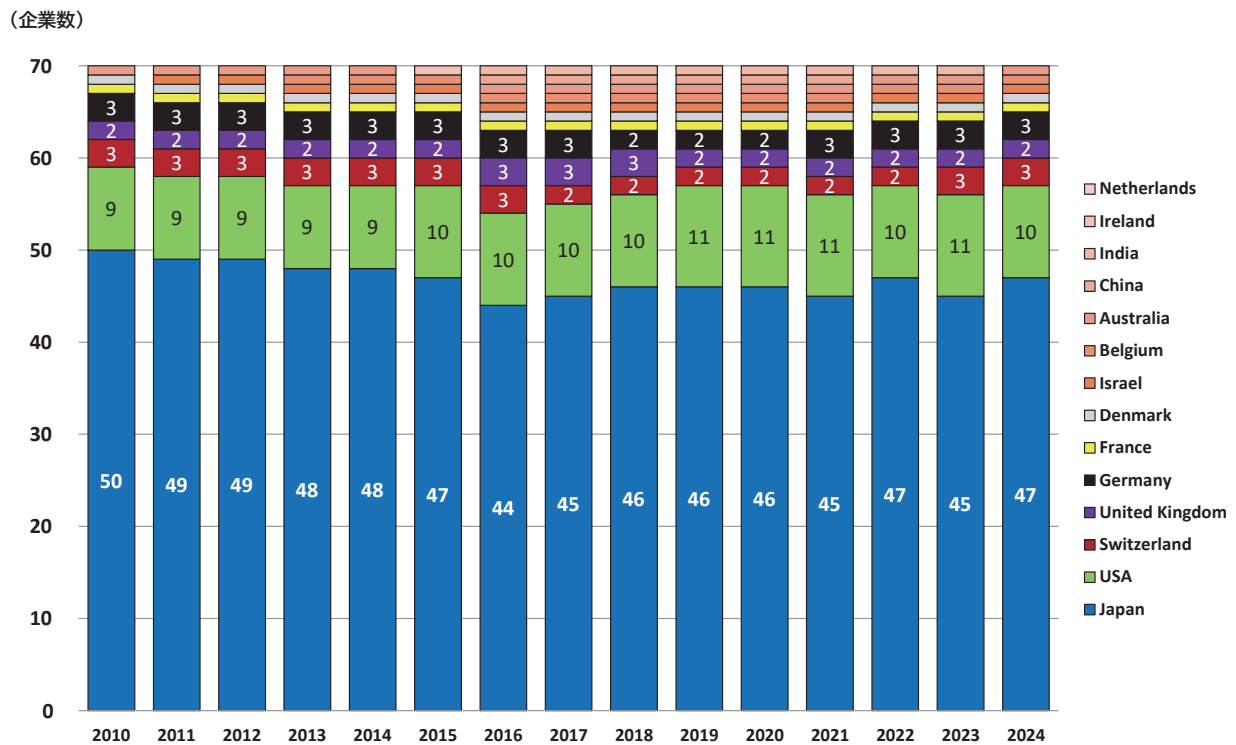
図5では棒グラフにて、ドル換算でみる国内売上高上位70社の売上高を企業国籍別に示し、緑色の折れ線グラフにて、円でみる国内売上高を示している。70社は医薬産業政策研究所で更新しているデータベースから最大値を用いた（調査方法参照）。円でみる国内売上高に対する上位70社売上高の割合について正確な数値が得られなかったため、2024年の製薬協会員企業68社の国内売上高は約9兆6,730億円で国内全体の約11兆5,040億円の84.1%であったことを参考値として付記する。

図5 15年間のドル換算でみる国内売上高上位70社の国籍別売上高推移



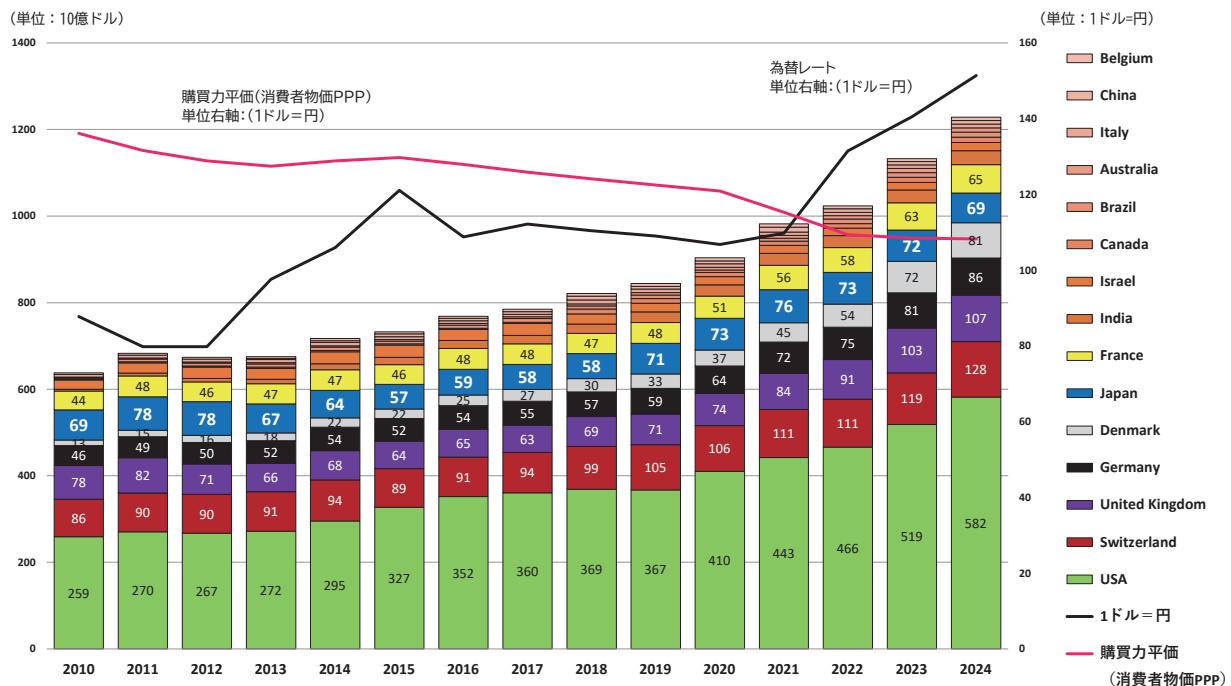
出所：Copyright©2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2010-2024（2026年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図6 15年間のドル換算でみる国内売上高上位70社の国籍別企業数推移



出所：Copyright©2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2010-2024（2026年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図7 15年間のドル換算でみる世界売上高上位100社の国籍別売上高推移



出所：Copyright©2026 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2010-2024（2026年3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）
購買力平価（PPP）：公益財団法人 国際通貨研究所

15年間の円でみる国内売上高推移は緩やかな増加傾向にあった（参照：緑色の折れ線グラフ）。一方、ドル換算でみる国内売上高上位70社の国籍別売上高推移は、2011年より持続的な減少傾向にあり、とりわけ近年においては減少が著しく、同じ日本市場でありながら、先に述べた円でみる推移と明らかな違いを示していた。また、近年の減少傾向は2021年からの急速な円安が示す推移と連動していた。

⑥ 15年間のドル換算でみる国内売上高上位70社の国籍別企業数推移

15年間のドル換算でみる国内売上高上位70社の国籍別企業数は合併や新旧企業の入れ替わり¹⁰⁾などにより、一部、変化が見られるものの15年間で大きな増減はなかった（図6）。円で緩やかな増加傾向かつドル換算では減少傾向を示していた15年間の国内医療用医薬品市場をみると、新たに複数の日本国籍企業が売上高を伸ばして上位70社に

参入することなく、また、外国籍企業が参入数を伸ばすこともなく、国内医薬品市場上位の企業数という観点でみると硬直的な市場構造が続いていた。

(2) 世界市場

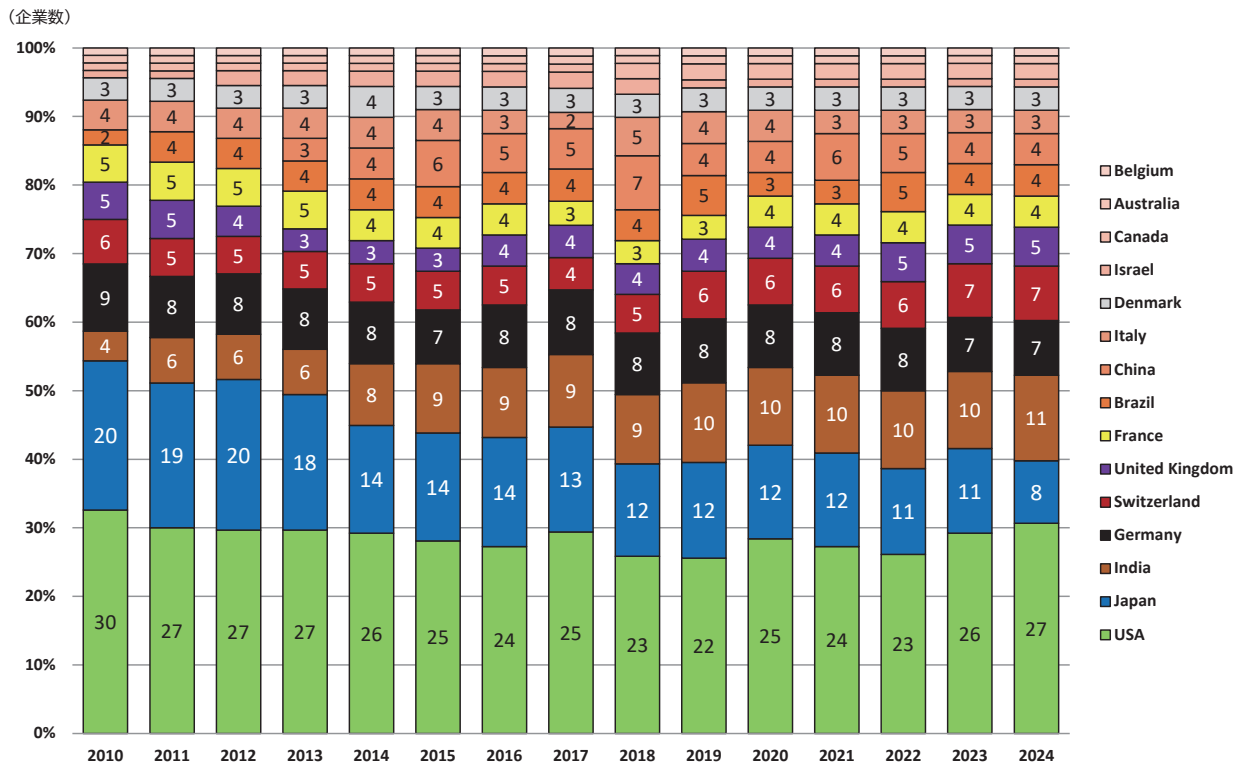
① 15年間のドル換算による世界売上高上位100社の国籍別売上高推移

15年間のドル換算でみる世界売上高上位100社の総売上高は増加し続けている（図7）。100社は医薬産業政策研究所で更新しているデータベースから最大値を用いた（調査方法参照）。

世界市場の伸長に伴い、世界売上高の大きい米国、スイス、英国、ドイツ、デンマーク国籍の企業は、世界での売上高を伸ばし続けており、その増加傾向は近年において著しい。一方、ドル換算でみる世界売上高上位100社に入る日本国籍企業の売上高は2022年以降減少傾向にあり、2023年にはデンマーク国籍企業に抜かれ6位となった。さ

10) 日本製薬工業協会DATA BOOK 2026、A1-5「医薬品企業の合従連衡（日本）」&A1-6「世界の医薬品企業の合従連衡」

図8 15年間のドル換算でみる世界売上高上位100社の国籍別企業数推移



出所：Copyright©2026 IQVIA, IQVIA World Review Analyst, Data Period 2010-2024（2026年3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）

らに2024年の日本国籍企業の売上高約690億ドルは15年前の2010年と同水準であり、世界売上高上位国籍企業が世界市場で売上高を伸ばす中で日本国籍企業の低迷は顕著であった。

また、図7には円ドルのPPPを併記している。15年間に於いてPPPレートが円高方向に大きく動いており、円でみる収益性の低下を示していた。

② 15年間のドル換算による世界売上高上位100社の国籍別企業数推移

図8では15年間のドル換算で世界売上高上位100社の国籍別企業数推移を示す。

15年間のドル換算でみる世界売上高上位100社のうち、最大売上高の米国籍企業数においては15年間で22-30社と変動が見られ、2023年では26企業、2024年では27企業と近年では増加傾向にあった。

インド国籍企業数は明らかな増加傾向を示していた。その外国籍の企業数は1-2社程度の増減が見られた。日本国籍企業数は明らかに他国と異なる傾向を示しており、2010年の20企業から2024年

の8企業へと減少を続け15年間で6割減となっていた。

4. まとめ・考察

3. (1)にて、15年間、10年間の円でみる国内医療用医薬品市場は緩やかな増加傾向にあるものの、外国籍企業と比べ日本国籍企業は僅かな増加にとどまっていること、さらに、日本国籍の製薬協会企業においてはマイナス成長であることを述べた。加えて、ドル換算でみると国内医療用医薬品市場は縮小傾向にあり、特に近年においてはその傾向が強まっていることに言及した。

成長伸び悩む日本市場の中で、円でみる売上高上位70社の企業数変化を国籍別にみると、合併や新旧企業の入替わりなどにより一部の増加はあるものの、各国ともに企業数は15年間ほぼ変化が見られていない。複数の新たな日本国籍企業の台頭や外国籍企業の参入といった企業の新陳代謝は見られておらず、円では緩やかな増加、ドル換算では明らかな縮小を続ける国内市場を変わらぬ国

籍、変わらぬ企業数で分け合っている状態が続いていた。

近年、日本国籍の製薬企業による主に米国を中心とした海外投資が積極的に実施されている¹¹⁾。なかでも米国によるトランプ関税政策や最恵国待遇（Most Favored Nation：以下、MFN）政策への対応は、医薬品産業にとって直近の最重要課題になると想定され¹²⁾、不確実性の高い市場予測への対応という点も含め、米国への投資を加速する経営判断を公表している日本国籍企業もある¹³⁾。トランプ関税政策や MFN 政策は流動的な要素を多分に含んでおり企業戦略は敏捷的と想定されるが、米国を中心とした海外投資が増加することに伴い、自ずと各企業が得る外貨（特に米ドル）の企業収益に対する影響度は高くなり¹⁴⁾、国内外の医薬品市場においてドル換算での企業収益を強く意識する必要性が増す。

また、日本国籍企業のみならず外国籍企業においても MFN が適応される医薬品価格は自社の経営判断を左右する強いファクターとなる¹⁵⁾。そのため、2010～2024年の15年間ですでに縮小傾向にあるドル換算での日本医薬品市場が更なる縮小を続けるとすれば、外国籍の製薬企業が日本への投資に消極的になる可能性は否めない。加えて、日本への投資が消極的になれば、近年言われるように海外で使用する革新的な医薬品が日本の患者へ届かない医薬品アクセス問題も生じ得る¹⁶⁾、

現在の円安の環境が続けば、日本市場での新薬の国際価格が相対的に下がるリスクとなり MFN 適応の可能性が高まる。現に円ドルの PPP をみれば（図7）、すでに円での収益性は右肩下がり減少の一途を辿っているのが実態であり、医薬品への影響も大きいことは言うまでもない。

円で緩やかな増加、ドル換算では縮小する日本の医薬品市場について上述したが、海外で大きく売上を伸ばしているのであれば、日本国籍の製薬企業が収益構造において海外比率を高めグローバル市場でのビジネス展開を推し進めていることになる。しかしながら、3. (2)にて言及したように、世界の医薬品売上高を構成する上位100社において、日本国籍企業は売上高を伸ばせず、企業数は大幅に減少している。日本市場での企業数においては、日本国籍企業数も外国籍企業も15年間ほぼ一定の数で推移している。日本国籍企業に限って言えば、ドル換算で伸長を続ける世界市場では数を減らし、縮小を続ける日本市場では数は変わらない。日本の医薬品産業を成長産業にするうえでは、低成長からの脱却を促すような構造変化が求められるだろう。

現在は日本成長戦略のもと創薬、バイオへの投資が検討、実施されている¹⁷⁾。成長促進に向けては多岐にわたる投資戦略があるだろう。本ニュースでは世界医薬品市場、日本医薬品市場を円、ドル双方から調査しファクトを拾った。また、為替

11) CENTER FOR STRATEGIC & INTERNATIONAL STUDIES, “Leveraging Japan’s Appetite for U.S. Investment and Partnership in Pharmaceuticals and Biotechnology”, Leveraging Japan’s Appetite for U.S. Investment and Partnership in Pharmaceuticals and Biotechnology（参照：2026/05/13）

12) Mika Kinoshita, Industrial Research Dept, Industrial & Social Studies Div, Mitsui & Co. Global Strategic Studies Institute, “THE IMPACT OF TRUMP 2.0 ON THE PHARMACEUTICAL INDUSTRY – IMPLICATIONS FOR DRUG PRICING, MANUFACTURING, AND INTERNATIONAL COOPERATION –”, Mitsui & Co. Global Strategic Studies Institute Monthly Report October 2025, 2510_i_kinoshita_e.pdf（参照：2026/05/13）

13) 武田薬品・ウェバーCEO関税影響は「限定的」も米国に5年間で約4兆3,000億円投資へ | ニュース | ミクスOnline（参照：2026/05/29）

14) 日本製薬工業協会 DATA BOOK 2026、A3-2「大手製薬企業の規模と業績（20社／連結決算）（日本）」

15) Tomas J. Philipson, Deyu Zhang, Qi Zhao, Heather Johnson, “The Impact on Patient Health of Most-Favored-Nation Pricing of Already Marketed Drugs”, September 27, 2025, MFN-Impact-on-Patient-Health-Final-Sep-29.pdf（参照：2026/05/29）

16) 成瀬道紀、日本総研、“米国トランプ薬価政策がわが国に与える影響－わが国の薬剤費政策の根本的転換の好機－”, Research Focus, No. 2025-019, 2025年6月6日、<https://www.jri.co.jp/MediaLibrary/file/report/researchfocus/pdf/15864.pdf>（参照：2026/05/13）

17) 日本成長戦略本部／日本成長戦略会議、内閣官房 HP、日本成長戦略本部／日本成長戦略会議 | 内閣官房ホームページ（参照：2026/05/25）

でみた市場動向に物価指数や GDP 値の変動を併記することで、市場が各指標と連動しているか、連動していないかについて分析、可視化した。

一方、本ニュースでは、為替や物価以外で「ドル換算の国内医薬品市場を縮小させている要因」や「国内医薬品市場における上位売上高企業において各国企業数の新陳代謝が起こっていない要因」あるいは「日本国籍企業によるドル換算の世界売上高が減少している要因」、「日本国籍企業が世界市場での割合を低下させ、上位売上高企業数の中で数を顕著に減少させている要因」などについては取り上げていない。詳細な調査結果を掲載していない

ため深く言及しないが、少なくとも国内医薬品市場の縮小に関しては、日本固有の薬価制度の影響度が大きいことは言うまでもない¹⁾。また、ジェネリック医薬品の推進政策⁶⁾や薬価制度以外の規制なども上述の日本市場の縮小、海外での日本国籍企業の低迷に大きく関わる要因となっていること¹⁸⁾は多くの資料から確認できる。

医薬品産業が日本を牽引する成長産業となるために、また、医薬品産業の最大の使命である革新的な医薬品を望む患者に確実に医薬品を届けるために、政策や投資など官民の連携が一層効率的に行われることが強く望まれる。

18) 中医協、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会報告書」、令和6年4月24日、001276015.pdf（参照：2026/05/13）

OECDレポートでみたOECD加盟国のPatient-Reported Outcome Measure (PROM) データの利活用状況

医薬産業政策研究所 首席研究員 椿原慎治
主任研究員 鍋島竜介
主任研究員 神地沙織

要約

- 2025年に公表された経済協力開発機構 (Organisation for Economic Co-operation and Development, OECD) 加盟38か国を対象とした Patient-Reported Outcome Measure (PROM) データの収集・利活用状況の実態調査レポートを、施策の状況、収集技術、収集環境、収集主体、利用目的、利用者、利用環境、権利と法整備の観点で整理した。
- 27か国でPROM施策が進展しており、24か国で政府または自治体による体系的な PROM データ収集・利活用が広まっていることが報告された。
- PROM データは電子カルテを中心に紙媒体やモバイルアプリケーションなどで収集され、行政やレジストリといった多様なデータベースと連携されていた。
- PROMデータは主に医療の質改善・保証を目的に、医療従事者が頻繁に利用していた。一方で、政策立案者や患者・市民による活用は相対的に少なかった。
- PROM データ収集に関連する法整備が自国にあるとした回答者は約4割だった。PROMデータ利活用の推進にあたっては国家・政策的支援

やIT基盤の構築、人材の教育と利活用への意識向上が挙げられた。

1. はじめに

経済協力開発機構 (Organisation for Economic Co-operation and Development: 以下、OECD) は、人間を中心とした医療システムが機能するためには、実際に医療が提供された患者のアウトカム評価と受療経験から得られた知見と視点を医療の質の改善に取り入れることが重要な施策であるとしており、そのことは疾病に悩む人々の医療ニーズの満足度の向上に寄与し、医療ケアの進歩とその実践の改善、医薬・医療技術の研究開発の推進、そして医療政策の妥当性を高めることができるとしている¹⁾。患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome: 以下、PRO) は患者の健康状態に関して患者本人から直接報告される情報に基づく尺度であり、「患者の回答について、臨床医や他の誰の解釈も介さず、患者から直接得られる患者の健康状態に関するすべての報告」と定義されている²⁾。患者報告に使用される尺度やツールは Patient-Reported Outcome Measure と呼称され、PROMと略される。患者自身が報告する健康アウトカムと患者の受療経験は相対的にみ

1) OECD Health Working Papers No.183 “PROMoting quality of care through patient reported outcome measures (PROMs): Systematic collection of PROMs for quality improvement and assurance in 38 countries” (2025.6)
https://www.oecd.org/en/publications/promoting-quality-of-care-through-patient-reported-outcome-measures-proms_c17bb968-en.html

2) FDA homepage, 「Patient-Reported Outcome Measures: Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims」
<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-reported-outcome-measures-use-medical-product-development-support-labeling-claims> (content current: 2019.10)

てその重要性は同等ではなく、欧州4か国の患者を対象とした近年の研究では、健康状態や年齢に応じて異なる結果ではあったが平均すると約8割の患者が、どのような医療ケアを受けたかよりも、健康状態がどのように変化したかの方が医療チームを選択するうえで重要であると回答した。この患者の選好は医療の質の向上に向けた手段として、PROMによる患者の健康状態の測定と把握を組み入れることの重要性を示唆している³⁾。

本稿は、OECDが2024年6月に加盟国38か国を対象とした臨床現場のPROM利用と収集状況の調査を実施し、得られた知見を整理した2025年公表のHealth Working Papers「PROMoting quality of care through patient reported outcome mea-

asures(PROMs)：Systematic collection of PROMs for quality improvement and assurance in 38 countries」¹⁾の概要を伝える。医薬産業政策研究所では、2025年にPROの日常的な収集環境の構築をポジションペーパーの形で提言しており⁴⁾、そこではこのOECDレポートから調査結果を部分的に引用したが、本稿では包括的な概要を示した。

このレポートでは各国が国家レベルで実施するPROMデータの体系的収集と「医療の質」の向上と保証への活用状況を評価している。定期的に収集されるPROMデータは表1にあるよう、医療の質向上に向けて幅広く活用できるとしている。すなわち、PROMデータの収集によって提供される医療の品質を測り患者の医療ニーズを把握するこ

表1 PROMデータの主な利用目的

利用目的	報告者	事例等
患者ニーズの顕在化	Scanferla E. (2023)	精神疾患患者からの定期的なPROM測定と使用は、メンタルヘルスケアサービスにおけるケアの質向上の重要指標となった
患者の健康状態の改善	Campbell R. (2022)	PROM介入により医療ケアとフォローアップの質の向上を保証し、包括的かつ個別化されたケアの提供と積極的な健康介入を促進することができた
	Basch E. (2017) Balitsky A. (2024)	がん化学療法患者の日常ケアにPROMを組み込むことで、通常ケア群と比較して有意な生存率の向上が示され、この研究を含むメタアナリシスでは生存率と健康関連QOLの改善が示された
医療の効率化	Withers K. (2021)	ウェールズのPROM、PREMプログラムでは、PROM収集とデータ活用により価値の低い診察の必要性が7割減少したことが示された
	Ackerman I. (2024)	オーストラリアの人工関節置換術レジストリの術前後PROMデータから再手術が必要な患者の早期スクリーニングが可能となり、意思決定のサポートに繋がった
医療政策の材料	de Bienassis K. (2021)	地域間や患者群間のPROMデータを使用することで医療提供の質と量の相対的な差異が顕在化され、医療資源投下の優先順位付けを行うことができる
医療従事者の育成		PROMデータを活用することで継続的な医学教育と専門能力の開発プログラムの強化に繋げることができる
医療技術の評価	Pasqualini I, Piuizzi N. (2024)	人工関節置換術を提供する医療機関の評価・認定にPROMの利用を検討している（アメリカ The Joint Commission） 人工関節置換術を提供する医療機関への保険支払い制度にPROMの利用を予定している（アメリカ CMS）

引用1）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3) Katz G. B., “Outcomes or Experiences – What Do Patients Value More When Evaluating Medical Teams?” NEJM Catal. Innov. Care Deliv. 5(7) (2024.6) <https://catalyst.nejm.org/doi/10.1056/CAT.24.0086>
4) 日本製薬工業協会 医薬産業政策研究所 ポジションペーパー No.10「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－」(2025.12) https://www.jpma.or.jp/opir/positionpaper/pp_010/article_010.html

とにより、医療機関が提供する医療の質や技術の改善に向けたフィードバックへの活用、クリニカルパスや診療ガイドライン等の医療の標準化に必要な情報の提供、PROMデータ利用による医療の質や技術の地域間比較、転帰情報や介入経験が乏しい患者群への予算・医療資源の配分等の医療政策の意思決定材料、医療者の育成機関ではPROMデータの活用による継続的な医学教育と専門能力の開発プログラムの強化等の活用事例が挙げられている。

調査対象は、OECD加盟国35か国（オーストラリア、オーストリア、ベルギー、カナダ、コロンビア、コスタリカ、チェコ、デンマーク、イギリス、エストニア、フィンランド、フランス、ドイツ、ギリシャ、アイスランド、アイルランド、イスラエル、イタリア、日本、ラトビア、リトアニア、ルクセンブルク、メキシコ、オランダ、ニュージーランド、ノルウェー、ポルトガル、スロバキア、スロベニア、韓国、スウェーデン、スイス、トルコ、米国、ウェールズ）と調査時点で加盟プロセスにある候補3か国（ブルガリア、クロアチア、ルーマニア）の計38か国であり、調査にはPROMデータの収集、利用、データ統合範囲、PROM施策の文脈情報を網羅する38の質問からなる体系的アンケート「PROMoting quality of

careスナップショット調査」が用いられた。なお、調査票の構造と詳細は原著で確認頂きたい。

本稿では当レポートから、(1)各国のPROM施策の状況、(2)PROMデータの収集手段、(3)PROMデータの収集環境、(4)PROMデータの収集主体、(5)PROMデータの収集目的、(6)PROMデータの利用者、(7)PROMデータの利用環境、(8)PROMデータの権利と法整備について概要を紹介する。また巻末にレポート内で特徴が紹介されたPROMプログラムを別表として整理した。なお、当レポートの調査結果が網羅的ではない可能性があるため解釈に留意が必要である。

2. OECD レポートの概要

(1) 各国の PROM 施策の状況

各国のPROM施策の進展状況を表2に示す。複数回答の4か国を含め、近年、患者数、地域数等PROMデータの収集規模を拡大していると回答したのは22か国（58%）、新たな疾患領域等、収集範囲を拡大していたとした国は9か国（24%）、両方を拡大していたとした国は4か国（11%）であった。つまり、38か国の約7割、27か国がPROM施策を進展していると回答した。近年パイロット的にPROM収集を開始したと回答した3か国を含めると30か国でPROM施策に進展があ

表2 OECD 加盟国の PROM 施策の状況

PROM データの 収集規模を拡大 (患者数、地域数等)		PROM データの 収集範囲を拡大 (疾患領域、患者群等)	パイロット的に PROM 収集を開始	PROM 収集に 近年変化なし
Australia	Greece	Canada*	Italy	Bulgaria
Austria	Iceland	Denmark	Latvia	Costa Rica
Belgium	Ireland	England*	South Korea	Croatia
Canada*	Israel	Estonia*		Japan
Colombia	Luxembourg	Finland*		Lithuania
Czechia	New Zealand	Netherlands		Mexico
England*	Portugal	Norway		Slovakia
Estonia*	Romania	Sweden		Türkiye
Finland*	Slovenia	Wales		
Franc	Switzerland			
Germany	United State			

* 複数回答国
引用1) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

ったという結果であった。なお、日本は変化していないという回答であった。

38か国中24か国（63％）が、政府または自治体による体系的な PROM データ収集と活用がなされていると報告しており、政策レベルで PROM データを収集、利用するプログラム（以下、PROM プログラム）を推進（オーストリア、イギリス、ウェールズ）、政府主導の患者レジストリで PROM プログラムを実装（デンマーク、オランダ、ノルウェー）が挙げられていた。米国では大規模の基幹病院ネットワークにおいて PROM プログラムを実装していた。

調査対象38か国中24か国から多様な疾患や症状の55の PROM プログラムについて報告がなされた。これらプログラムのうち、42プログラム（76％）で医療政策等のマクロレベルで PROM データが利用されており、11プログラム（20％）はメゾレベル（地域社会や病院等の小集団）で利用されていた。13プログラム（24％）はマクロ、メゾレベルの両方で利用されていた。一つで複数の対象疾

患を有するプログラムも多くあり、対象とする疾患または状態は計52、延べ117であった（表3）。なお患者単位のミクロレベルでの PROM 利用はこの調査の対象外であった。

(2) PROM データの収集技術

多くの PROM プログラムでデータ収集に IT／DX 技術の活用が進んでいた。重複はあるが55プログラムの PROM データの収集手段として、電子カルテの診療記録 (Electronic Medical Record, 以下、EMR) からのデータ収集が36プログラムと最も多く（65％）、次に用紙記入式が29（53％）、モバイルアプリケーションが20（36％）、オンラインリンクが16（29％）だった。またインタビューによる PROM 収集も7プログラムで実施されていた（13％）（表4）。スウェーデンの「National Quality Registers（国家品質登録制度）」等、約3割のプログラムで電子データ式と用紙記入式と両方を採用していた。オーストリア「PRÖMs (PRO-EMs) Pilot Project」、ニュージーランド「PROMs

表3 PROM プログラムの対象疾患／状態

対象疾患／状態	各対象のプログラム数
股関節炎／膝関節炎患者（人工関節置換術後患者含む）	18
心血管疾患患者	8
プライマリーケア受診患者	7
メンタルケア受診患者	6
悪性腫瘍患者	
一般市民	5
肩関節炎／人工肩関節置換術患者	4
慢性疾患患者	
妊婦	3
緩和ケア受診患者	
慢性疼痛患者、脊椎術後患者、リウマチ患者、糖尿病患者、周産期、急性期疾患患者、高齢患者、救急患者、リハビリテーション受療患者、術前／術後患者、長期ケア受診患者	2
白内障術後患者、透析患者、歯疾患患者、股関節疾患患者、病院ケア受診患者、眼疾患患者、内分泌疾患患者、乾癬患者、皮膚疾患患者、てんかん患者、耳鼻咽喉疾患患者、中枢神経疾患患者、婦人科疾患患者、減量手術後の高度肥満、消化器疾患患者、腹腔内手術後患者、前十字靱帯損傷患者、呼吸器／アレルギー疾患患者、頸部骨折患者、腎疾患患者、性同一性障害、可動域障害、人工足関節置換術患者、人工肘関節置換術患者、希少疾患患者、職業性疾病患者、感染症患者、臓器移植患者、機能障害、小児患者、入院患者	1

引用1) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表4 PROMデータの収集技術

診療記録から 電子データ収集		用紙記入式		モバイル アプリケーション		オンラインリンク		インタビュー	
Australia	2	Austria	1	Austria	1	Austria	1	Belgium	1
Austria	1	Belgium	1	Canada	3	Belgium	1	Canada	3
Canada	6	Canada	5	England	2	Canada	3	Estonia	1
Denmark	1	England	4	Estonia	1	England	2	Slovenia	1
England	1	Estonia	1	Finland	1	Estonia	2	Switzerland	1
Finland	2	Finland	1	France	1	Greece	1		
France	1	Germany	2	Germany	1	Ireland	1		
Germany	1	Ireland	1	Greece	1	Netherlands	2		
Greece	1	Italy	1	Ireland	1	New Zealand	1		
Ireland	1	Luxembourg	2	Israel	1	Switzerland	1		
Israel	1	Netherlands	1	Netherlands	1	United State	1		
Italy	1	Norway	2	New Zealand	1				
Luxembourg	2	Portugal	1	Portugal	1				
Netherlands	4	Slovenia	2	Switzerland	3				
Norway	2	Sweden	1	United State	1				
Slovenia	2	Switzerland	3						
Sweden	1								
Switzerland	3								
United State	2								
Wales	1								
計	36		29		20		16		7

数値は各国のPROMプログラム数
引用1)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

in primary care」等のプログラムではオンラインリンクとモバイルアプリケーションを組み合わせ、PROMデータを収集していた。オーストリアの糖尿病患者を対象とした「Therapie Aktiv: Diabetes Disease Management」、オーストラリアのがん患者を対象とした「CIC cancer」、イタリアの人工股関節置換術患者を対象とした「DATAREG」等のプログラムでは電子データのみで収集しており、ドイツのPCI（経皮的冠動脈インターベンション）患者プログラム「Patient survey Percutaneous coronary intervention and coronary angiography」、イギリスの在宅介護等の社会的ケア受療者を対象としたプログラム「Adult Social Care Outcomes Toolkit (ASCOT)」ではPROMデータ収集は用紙記入式のみであった。

(3) PROMデータの収集環境

PROMデータは主にサーベイランス（60%）を通じて収集されており、患者レジストリ（22%）、診療記録（22%）、行政データベース（16%）からも収集されていた。例えば、ウェールズのPROMデータはサーベイランスから、デンマークの「National PRO」プログラムは診療記録から、フィンランド「Spine Register」は脊椎疾患患者レジストリから、カナダ「Provincial Cancer Care Programs」は行政データベースからPROMデータを収集していた。

患者アウトカム評価ツールとして、55プログラムのうち35（64%）で汎用的PROMと症状特異的PROMの両方を使用しており、汎用的PROMのみ、症状特異的PROMのみはそれぞれ10（18%）、7（13%）であった。55プログラムのうち54（98%）

はPROMデータの定量分析が実施され、16（29％）は定量分析と定性分析を併せて実施していた。定性分析を合わせて実施することで患者アウトカムについて定量分析では補足できない状況や複雑な要因に対し、より包括的な理解が得られるとしている⁵⁾。

診療の場で日常的に PROM データを収集しているプログラムは約7割を占めていたが、ギリシャの心臓病患者対象プログラム「VIP-survey for People living with heart conditions patients」やフランスの精神疾患入院患者対象プログラム「PROM for inpatients and outpatients of a psychiatric hospital」のようにプログラムの16%では代表集団のサンプルからデータが収集されていた。プログラムの65%は診察または治療介入の前後にデータが収集されており、データ収集の間隔は毎月から（米国「Northwestern Medicine Patient Reported Outcomes」等）、数年毎と様々であった。

(4) PROM データの収集主体

55の PROM プログラムでは PROM データ収集の責任組織は政府機関と病院で半数以上を占めていた。重複を含めて21プログラムではデータ収集の責任主体が政府機関であった（カナダ「British Columbia Office of Patient-Centred Measurement」等）。17プログラムでは病院が収集の責任主体であり（スロベニア「PROMs in Knee and Hip Arthroplasty Registry」等）、12プログラムでは大学（ポルトガル「PROMS Breast Cancer」等）、6 プログラムではレジストリ（オーストラリア「AOANJRR PROM」等）が収集の責任主体であった。他の収集主体として、非政府組織が4、民間組織が2であった（表5）。PROM データ収集のネットワークやパートナーシップはプログラムの約3割に存在しており、例えばオーストリアの「PRÖMs Project」はブリストル大学「Primary Care Outcomes Questionnaire（PCOQ）」とネットワークを構築し、カナダの「Alberta PROMs Initiatives」と「Alberta PROMs and EQ-5D Re-

表5 PROM データの収集主体

行政機関		病院機関		大学機関		レジストリ		非政府組織		民間組織	
Austria	3	Belgium	1	Australia	1	Australia	1	Canada	1	Switzerland	1
Belgium	1	Canada	1	Canada	2	Germany	1	Netherlands	3	United State	1
Canada	5	Denmark	1	England	2	Norway	2				
England	1	England	1	Greece	2	Slovenia	1				
Finland	1	Estonia	2	Netherlands	2	Sweden	1				
Germany	1	Finland	1	Portugal	1						
Greece	1	France	1	Switzerland	1						
Ireland	2	Germany	2	United State	1						
Israel	1	Italy	2								
Luxembourg	2	Slovenia	1								
New Zealand	1	Switzerland	3								
Sweden	1	Wales	1								
Wales	1										
計	21		17		12		6		4		2

数値は各国の PROM プログラム数
引用1）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

5) Regnault A., “Towards the use of mixed methods inquiry as best practice in health outcomes research”, Journal of Patient Reported Outcomes 2(19) (2018.4) <https://link.springer.com/article/10.1186/s41687-018-0043-8>

search and Support Unit (APERSU)」はパートナーシップを構築していた。

(5) PROM データの利用目的

65%のプログラムで、収集されたPROMデータは多様なデータベースとリンクしていると回答された。リンクするデータベースは、行政データベースが42%（カナダ「McGill University PROMIS Canada PROMs Programme」等）、レジストリデータベース24%（イタリア「PaRIS-IOR」等）、診療記録24%（ドイツ「Dresden Hip and Knee Arthroplasty Registry」等）であった。

PROMデータの利用目的として、有効回答の50プログラムのうち48（96%）が「医療の質の改善」、次いで医療の質改善を目的とした「医療の質保証」が27（54%）、「質保証」と「説明責任」の両方が23（46%）と回答された。例としてニュージーランド「PROMs in primary care」では品質保証機能に、米国「UR Patient Reported Outcomes」では品質保証と品質改善の機能に、スイス「Open-PROMs」では品質保証機能に加え説明責任にPROMデータを統合していた。他の目的としてはノルウェー「PROMs in joint replacement ; hip fracture ; cruciate ligament injuries ; Paediatric and young adult hip disease」では研究用にデータを利用し、ドイツ「Patient survey Percutaneous coronary intervention ～」では、提供される医療の質を相対比較するためにPROMデータをベンチマークとして利用していた。

品質保証機能の内訳割合を以下に示すと、医療施設への「審査とフィードバック」55%、「公共レポート」53%、「クリニカルパス」47%、「臨床ガイドライン」28%、医療技術等の「導入規制」28%、医療施設の「監督」19%、基準適合の「認証」15%、「説明責任報告」11%、「医療の質に連動した報酬」11%、「認定」（認証機関に対する適合性評価）9%であった。オランダ「the PROMs programme integrated in EHR」はPROMデータを審査とフィードバック、公共レポート、クリニカルパスに利用しており、スロベニア「Oxford Knee Score and Oxford Hip Score」は臨床ガイドライ

ンと技術導入等の規制に、ギリシャ「VIP-survey～」は医療施設の監督に利用していた。他に、ドイツ「Dresden Hip and Knee～」は認定制度に、ポルトガル「PROMS Breast Cancer」は説明責任報告、カナダ「Quebec PROMs programs connected to McGill University」等は認定制度にPROMデータを利用していた。約9割のプログラムでPROMデータ利用の品質保証機能は病院において運用されていた。

(6) PROM データの利用者

有効回答が得られた51プログラムではPROMデータの主利用者として、38（75%）が医療従事者、27（53%）が医療従事者組織、24（47%）が政策立案者、21（41%）が医療機関やレジストリの管理者と回答があった（重複あり）。ノルウェー「National quality registers」では政策立案者と医療従事者が、アイルランド「Irish National Orthopaedic Register」では政策立案者、管理者、医療従事者、他の関連する専門家が利用可能とされた。

患者がPROMデータを利用できるプログラムは約3割であり、19が患者に、12が患者団体にPROMデータの利用を可能としていた（重複あり）。イギリス「Adult Social Care Outcomes Toolkit」は、患者、患者団体、規制当局がPROMデータを利用できるとされた。保険利用者と保険支払者による利用可能は9プログラム（18%）あり、米国「UR Patient Reported Outcomes」、スイス「OpenPROMs」が該当した。医療産業の利用可能は6プログラム（12%）であり、オランダ「integrated in EHR」が例として挙げられた。一般市民の利用はイギリス「National PROMs」のみだった。

調査結果では、医療従事者はPROM収集とその利用において頻繁に関与している反面、患者と一般市民の関与は少ないことが判明した。患者が関与している場合でも実情として医療従事者ほど積極的ではなかった。53のプログラムから、意思決定に繋がるPROMデータ収集と利用に関して、医療者が患者を「パートナー」と評価する回答は17

(32%) だったが、患者が医療者を「パートナー」と評価したものは36 (68%) と非対称の結果であった。本レポートではPROMデータの収集と利用に対して患者と医療従事者が積極的に関与することで、結果の信頼性、受容性、関連性を高めることができ、患者と医療従事者が互いに協力することで意思決定のためのパートナー、共同開発者になることができると述べられていた。

(7) PROM データの利用環境

有効回答51プログラムのうち23 (45%) で、PROMデータはelectronic health records (以下、EHR) に統合されていた(デンマーク「National PRO」、カナダ「Quebec PROMs programme」等)。特定の専門家向けにデータを部分的にEHRに統合するプログラムもあった(カナダ「British Columbia Office」)。有効回答52プログラムのうち36 (69%) は、患者はPROM入力と利用のために携帯電話、タブレット、コンピューターからオンラインプラットフォームにアクセスできると回答した(デンマーク「National PRO」、ルクセンブルク「Initiative PaRIS」等)。イギリス「Mental Health Service data set and the NHS Talking Therapies Data Set」ではオンラインアクセスを医療提供者に限定していた。

約6割のPROMプログラムが中央管理するデータリポジトリにデータを統合していた(オーストリア「PRÖMs project」、「Therapie Aktiv」)、フィンランド「Spine Register」、「Rheumatology Register」、ニュージーランド「PROMs in primary care」等)。またノルウェー「PROMs in joint replacement」やカナダ「Manitoba PROMs Initiatives」等、プログラムの約半数がレジストリの一部として機能していた。

52のプログラムのうち、約3割で患者は自身のPROMデータにアクセスすることができた。ただし詳細データにはアクセス制限のあるプログラムもあった。デンマーク「National PRO」、ルクセンブルクの「Initiative PaRIS」、ノルウェー「PROMs in joint replacement」は患者が自身のアウトカム報告にアクセスでき、オーストラリア「AOAN-

JRR PROM」では患者は自分の報告と全国平均と比較することができるとされた。

有効回答47プログラムのうち43プログラム、約9割で医療従事者はPROMデータにアクセス可能とあり、約6割で医療従事者は患者個々のリアルタイムのPROMデータ、もしくはデータの要約にアクセス可能であった。また約4割でリアルタイムの集計データに医療従事者がアクセスできた。ウェールズのPROMプログラムやスイス「OpenPROMs」プログラム等では、医療従事者は患者個人のPROMデータを集計結果と比較することができ、ノルウェー「National Quality Registers」では医療従事者はリアルタイムデータの閲覧が可能であった。

(8) PROM データの権利と法整備

プログラムによってPROMデータの所有権と管理権の範囲は異なっていた。有効回答49プログラムでは、PROMデータの所有権と管理権に関して31のプログラム(63%)で患者はオプトイン(事前同意)する必要があるとあり、21(43%)ではオプトアウト(事後拒否)できた。例として、イタリア「PaRIS-IOR」、ドイツ「Oxford Hip and Oxford Knee Score in the German Arthroplasty Registry」では患者はオプトインする必要があるとあり、デンマーク「National PRO」、フィンランド「Spine register」では患者はオプトアウトが可能であった。4プログラムは患者にデータのアクセスと修正権を認めていた(ルクセンブルク「Initiative PaRIS」、アイルランド「PROM-ECC ICPOP」等)。

プログラムの58%で、個人または集団レベルでの解釈を可能とするPROMスコアまたはPROMスコアの変化に関する定義を整備していた。例えば米国「Northwestern Medicine」はPROMであるPROMISスコアの解釈についてガイドラインを提供しており、ドイツ「Oxford Hip and Oxford Knee Score」等ではスコア解釈のためにMinimal Clinically Important Difference (MCID : 臨床的に重要な最小差異)の定義を利用していた。

回答の約4割で、自国でPROMデータの収集、利用、公表を促進するための法律が存在していた。

例えばルクセンブルクでは国家レベルでの PROM 収集と公表の基盤法として、「National Health Observatory（国立健康観測所）」の設立法があり、ニュージーランドでは、PROMデータの利用は健康増進と医療アクセスの公平性実現を目的としたデータ収集、管理、報告を強化する「the Pae Ora（健康の未来）」法の一環として実施されている。スロベニアでは2022年の医療データベース法改正により PROM が「the National Arthroplasty Registry of Slovenia（国立関節形成術レジストリ）」の一部として組み込まれた。

3. まとめと考察

(1) PROM 利活用の推進に向けて

本稿ではOECDレポート「Systematic collection of PROMs for quality improvement and assurance in 38 countries」の概要を記し、注目すべき各PROMプログラムの特徴を整理した。本レポートでは、PROMデータの体系的な収集と利用を推進するためにはシステムレベルにおいて複数の手段が必要であると述べている。当調査の回答者から PROM データの収集と利用の普及のための促進因子が複数報告されており、強化すべき因子として挙げられたものは「政策的コミットメント」、「国家的アプローチ」、「研修と教育」、「IT インフラと技術開発」、「保健システムへの統合」、「PROM 収集と利用の重要性に関する意識向上の必要性」だったとしている。また「PROM標準化の強化」、「患者参加の促進」、「PROMデータの日常的な利用」、「リソースの配分」、「医療従事者と専門家へのインセンティブ」も促進要因として報告されていた。

国際連携も国家レベルでの PROM データ利用推進に重要な手段となりうるとうとあり、有効回答のあったプログラムの約6割で体系的 PROM 収集は国際協調活動の一環であると回答された。主な国際連携は OECD「Patient-Reported Indicator Surveys (PaRIS)」、「ICHOM (International Consortium for Health Outcomes Measurement : 国際医療成果測定協会)」、「European Health Interview Survey (EHIS)」であった。

国民の健康増進に向けた「政策的コミットメント」を背景にすることもPROM利活用促進に重要であるとあった。有効回答のあったプログラムの約7割はPROM収集を国家もしくは自治体行政プログラムの一部としていた。ルクセンブルクのPROM データ収集はパーキンソン病患者のケア向上を目的とした国際連携ネットワーク「ParkinsonNet」の一環であり、カナダではオンタリオ州、ブリティッシュコロンビア州の医療の質評価プログラムの一部としてPROM収集が行われていた。

「研修と教育」、「PROM 収集と利用の重要性に関する意識向上」に関しては、有効回答47プログラムのうち21（45%）で医療従事者向けのPROM 関連研修を実施していたが、患者・市民向けのPROM 啓発活動を実施していたプログラムは23%であり、ここにも非対称の課題が示された。デンマークではPROM の開発と利用に関する研修資料を提供しPROM 関連の会議やウェビナーを開催しており、オーストラリアでは政府支援でPROM 研修が行われていた。

(2) PROM 利活用の阻害要因

阻害要因として最も多く報告された課題は、「データ収集と分析のための人員不足」、「PROM システム取得と導入のコスト」といったリソース面の課題であった。技術面の課題は、既存の医療情報システムとの互換性、特定の患者グループに対する技術へのアクセス制限であった。人的課題として、専門家が限られている、知識と教育の不足からくる患者への関与に限界がある、PROM収集の時間的制約、報告することに対する患者の意欲、関心の欠如等が挙げられていた。患者の言語および識字能力の障壁、報告に対する患者の時間的拘束、プライバシーに関する患者および専門家の懸念は多くなかった。

OECD加盟国の医療水準はこの数年で大きな進歩を遂げてきたが、OECDが目指す真に人間中心の医療システムの実現には、その価値と質を測定する PROM データを体系的に収集し政策に実装する制度が必要であるとしている。しかし当調査で回答された各プログラムでは体系的な PROM

データは収集されているものの政策立案者による PROM データの利活用は十分ではないことが判明した。

難病に苦しむ数多くの患者さんのアンメットニーズを満たすため医薬品をはじめとする医療技術は今後も指数的なスピードで発展することが推測される。本レポートでは、患者と医療者の関係において PROM を介した意思決定の役割を co-developers with decision making role と表現されていた。この表現が臨床における意思決定に留まらず、医療知識の共創、医療価値の共創に繋がる Patient and Public Involvement (PPI：患者・市民参画) の視座で、治験参画や医療技術開発等の概念まで包含されるようになることが今後の医療の進歩にとって重要な課題となると推察する。PROM は患者の主観的経験を測定、可視化を可能とし、臨床的アウトカムの定義そのものに影響を与える点で、臨床における意思決定、医療知識、医療価値の三層を接続する中核的役割を担うこと

が期待される。この枠組みは、医療の不確実性の増大、アウトカムの質的転換、医療技術の複雑化といった現代医療の構造変化に対応するものと考ええる。

4. おわりに

進歩の歩みを止めない医療技術に対して、これからの政策としての医療技術評価制度には、イノベーションがもたらす多様な価値、医学／薬学専門家が評価する臨床的価値、そして受療する患者とその家族が体験する価値を複合的に高い精度をもって評価できるシステムの構築が極めて重要と考える。そのためには臨床試験、リアルワールドで PROM データを収集し相対的な医療技術評価に利用する環境を整備することが必要となる。日本は PROM データをマクロレベルで活用している OECD 加盟国と連携し PROM データの利活用に向けた基盤構築を進めることを期待したい。

別表 レポートで詳細が紹介された PROM プログラム一覧

国名	PROM プログラム	対象疾患／状態	使用 PROM 例	プログラムの特徴
Austria	PROMs (PROEMs) Project	多様な疾患	Generic PROMs (Austrian Specific) Instrument	・オンラインリンク、モバイルアプリケーションから収集 ・PROM 定量分析 ・ブリストル大学とネットワーク構築 ・患者の健康保険データに統合
	Therapie Aktiv : Diabetes Disease Management	糖尿病	EQ-5D	・診療記録の電子データから収集 ・患者の健康保険データに統合
	Cross-sectoral patient survey	分野横断的	Single item PROMs	医療の品質保証機能に利用
Australia	Continuous Improvement in Care (CIC) Cancer	がん	ICHOM (国際医療成果測定協会) standard dataset plus local additions	診療の場で日常的に収集
	Australian Orthopaedic Association National Joint Replacement Registry (AOANJRR) : Patient Reported Outcome Measures (PROMs) Project	股関節／膝関節／肩関節疾患 (THA／TKA／TSA)	Generic : EQ-5D-5L-VAS Specific : OHS, OKS, OSS, HOOS, KOOS (optional) (Additional questions on pain, expectations, comorbidity, satisfaction, change)	・レジストリがデータ収集主体 ・患者は自分のデータにアクセスでき、全国と比較できる
Belgium	Patient-Reported Outcomes in Oncology in Flanders (PROOF)	がん	Generic : EQ-5D, PRO-CTCEA Disease specific : EORT-QLQ-C30 Cancer type specific : EORT-LC (lung cancer), EORT-CRC (rectal cancer), LARS (rectal cancer) Single items on (un) employment	
	European Health Interview Survey (EHIS)	プライマリケア	Generic : EQ-5D-5L (quality of life), WHO + EHIS questions from EU-SILC (subjective health), HLS-EU-Q6 (health literacy)	・長期療養施設の品質保証機能に利用
Canada	Provincial Cancer Care Programs	がん	Specific : Edmonton Symptom Assessment System-revised	・行政データベースから収集 ・病院の品質保証機能に利用
	British Columbia Office of Patient-Centred Measurement	多様な疾患	Generic : EQ-5D-5L, VR-12 Specific : Various condition specific PROMs	・政府機関がデータ収集主体 ・専門家向けにデータを部分的に EHR に統合
	Alberta PROMs Initiatives	多様な疾患 (プライマリケア、透析等)	Generic : EQ-5D-5L, PHQ-9, GAD-7 (anxiety), Specific: IPOS-Renal, ESAS-r, other epilepsy specific PROMs, SF-36, PDI, LEFS, OMFQ etc.	・NGO がデータ収集主体 ・APERSU とパートナーシップ構築
	McGill University PROMIS Canada PROMs Programme	多様な疾患	Generic : PROMIS (short form, profile and computerised adaptive tests), EQ-5D Specific : Disease specific by chronic condition	・行政データベースとリンク ・データは電子カルテに反映 ・医療技術の提供認定に利用
	Manitoba PROMs Initiatives	脊髄手術、膝／肩関節置換術、白内障手術、心臓リハビリテーション	Generic : EQ-5D, SF-12 (SF-36), PHQ-9, GAD-7 (anxiety) Specific : Neck Disability Index, Oswestry Disability Index, IKDC, MARX, SANE, ASES, WORC, WOSI etc.	医療従事者は集計結果のみアクセス可
Denmark	National PRO	多様な疾患	Generic, Disease specific and single item PROMs	・診療記録の電子データから収集 ・データは電子カルテに反映 ・患者はアウトアウトができる ・患者は自分のデータに各種デバイスからアクセス可
England	Adult Social Care Outcomes Toolkit (ASCOT)	要介護者等	PROM social care-related quality of life around 8 domains (control, dignity, personal care, food and nutrition, safety, occupation, social participation and accommodation).	・用紙記入式による収集 ・患者、患者団体、規制当局が利用
	Long-Term Conditions Questionnaire	精神症状 (記憶障害、うつ等) 慢性疾患 (心疾患、糖尿病等)		医療の品質保証機能に利用
	National PROMs	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic : EQ-5D Disease/condition-specific : OKS, OHS	市民もデータ利用可
	Mental Health Services Data Set and the NHS Talking Therapies Data Set	各種精神症状	各種精神症状特異的 PROMS : GAD-7, GBO, ReQoL, MORS-SF, PHQ-9, ORS, CORs, RCADS, SDQ, WEMWBS, CIA etc.	オンラインプラットフォームへのアクセスは医療者に限定
Estonia	PROM in the clinical pathway for knee and hip joint replacement	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic : EQ-5D-5L Disease/condition-specific : OKS, OHS	定量分析＋定性分析
Finland	Spine Register	脊椎疾患	Generic : EQ-5D-3L Specific : ODI, NDI, VAS for radiating pain	・レジストリデータから収集 ・患者はアウトアウトができる ・公的機関である保健福祉研究所でデータ保存
	Rheumatology Register	リウマチ疾患	HAQ/MHAQ/CHAQ, BASDAI, BASFI, DLQI, pain catastrophizing scale, AUDIT-C, morning stiffness (duration, hours) and VAS foreach : pain, joint pain, back and neck pain, fatigue, overall health	・公的機関である保健福祉研究所でデータ保存
France	PROM for inpatients and outpatients of a psychiatric hospital	精神疾患	Generic PROMs (OECD & WHO) Disease/condition PROMs (from ICHOM standard sets)	代表集団のサンプルからデータ収集
Germany	Directive of the Federal Joint Committee on data supported cross-institutional quality assurance : Patient survey Percutaneous coronary intervention and coronary angiography	PCI、冠動脈造影	Disease-specific PROM	・用紙記入式による収集 ・医療技術評価のベンチマークに利用
	Dresden Hip and Knee Arthroplasty Registry	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic : EQ-5D Specific : OHS, OKS Single Item : Satisfaction	・診療記録とリンク ・医療技術認証に利用
	Oxford Hip and Oxford Knee Score in the German Arthroplasty Registry	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Specific : OHS/OKS Single Item : Satisfaction	・長期療養施設の品質保証機能に利用 ・分析に臨床的に重要な最小差異 (MCID) の定義を採用
Greece	VIP survey for People living with heart conditions patients	心疾患	Specific : Heart QoL, KCCQ-12	・代表集団のサンプルからデータ収集 ・提供された医療技術の監視に利用 ・将来的にレジストリとして収集
Italy	DATAREG	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Specific VAS, KOOS, HOOS, SF12, HHS, OXFORD SCORE	・診療記録の電子データから収集 ・患者相談、医療者相談、患者、医療者への情報提供にも利用
	PaRIS-JOR	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic : EQ-5D, VAS Disease/condition-specific : HOOS, KOOS, ASES	・行政データベース、レジストリとリンク ・患者はオプトインする必要がある
Ireland	Irish National Orthopaedic Register (INOR)	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic : EQ-5D, EQ VAS Disease/condition-specific : OKS, OHS	政策立案者、レジストリ管理者、医療従事者、専門家がデータ利用
	PROM-ECC ICPOP (Enhanced Community Care, Integrated Care Programme for Older People)	高齢者	EQ-5D-5L	患者に自身の報告の修正を認めている
Luxembourg	Initiative PaRIS	慢性疾患	PHQ8, MEHM, functional limitations, personal care activities, household activities	・患者は自分のデータに各種デバイスからアクセス可 ・患者に自身の報告の修正を認めている
Netherlands	the PROMs programme 'integrated in EHR'			・監査とフィードバック、公的レポート、クリニカルパス作成に利用 ・産業もデータ利用可
New Zealand	PROMs in primary care	プライマリケア	EQ-5D-5L Hua Oranga	・オンラインリンク、モバイルアプリケーションから収集 ・医療の質改善を目的とした品質保証機能に統合 ・保健品質安全委員会がデータ保存
Norway	PROMs in joint replacement : hip fracture : cruciate ligament injuries : Paediatric and young adult hip Disease	股関節／膝関節疾患、損傷	Generic : EQ-5D, PROMIS (Paediatrics) Condition-specific : HOOS, KOOS (Knee prothesis), WOOS, KOOS (Cruciate ligament injuries), HOOS12, IHOT12, QuickDASH, and SEFAS scores	・臨床疫学研究にも利用 ・患者は自分のデータにアクセス可 ・複数の整形外科疾患のナショナルレジストリの一つ
	National quality registers	多様な疾患	Generic : EQ-5D, PROMIS (short-forms), RAND-36 Condition-specific PROMS	・政策立案者と各専門家がデータを利用 ・医療従事者はリアルタイムの個人データにアクセス可
Portugal	PROMS Breast Cancer	乳がん	Disease/condition-specific PROMs (Breast Q)	・大学がデータ収集主体 ・医療機関の説明責任報告に利用
Slovenia	PROMs in Knee and Hip Arthroplasty Registry	股関節／膝関節疾患 (THA／TKA)	Generic and condition specific	・病院がデータ収集主体 ・臨床ガイドライン、医療技術提供の基準作成、提供技術の監視に利用
Sweden	National Quality Registries	多様な疾患	Generic : EQ-5D, RAND Specific : KOOS, HOOS, DASH, EORTC QLQ-C30	データ収集は診療記録の電子データ、用紙記入式からの両方が可能
Switzerland	OpenPROMs	心血管疾患	Generic : PROMIS GH-10, PROMIS PF-SF, PHQ-2, EQ-5D-5L Disease/condition-specific : KCCQ-12, SAQ-7, IDCV, RDS	・医療の質改善、説明責任を目的とした品質保証機能に統合 ・医療従事者は個別データ、集計結果の要約にアクセス可 ・データ購入者、保険支払者も利用可
United States	UR Patient Reported Outcomes (University of Rochester)	多様な疾患	Generic : PROMIS, PASS score, PHQ9 Disease/condition-specific : ODI, Heart conditions PRO outcome instruments, Neurology PRO outcome instruments	・品質保証と品質改善の機能に PROM データを統合 ・保険利用者と保険支払者も PROM データを利用可
	Northwestern Medicine Patient Reported Outcomes	多様な疾患	PROMIS, FACIT, and various condition-specific	・診療の場で日常的に収集 ・民間組織がデータ収集主体 ・PROMIS スコアの解釈についてガイドラインを提供

引用 1) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

近年の臨床開発におけるAI活用の効果と課題の探索的調査 ー被験者リクルートメントと臨床試験文書作成ー

医薬産業政策研究所 主任研究員 枝廣 誠
主任研究員 日比野 翔
主任研究員 下山田浩平

要約

- 臨床開発における AI 活用の効果と課題の探索的調査を行った。2026年4月時点の検証による AI 活用の定量的効果が明記された事例として、被験者リクルートメントと臨床試験文書作成における検証事例が複数収集された。
- 被験者リクルートメントの AI 活用事例において、実際の臨床試験ではプレスクリーニング時間を約70%削減した。課題として、「医療情報記録の品質」と「AIによる選択バイアス」があげられた。
- 臨床試験文書作成の AI 活用事例において、治験総括報告書の作成期間を120日から78日に削減した。課題として、「ハルシネーションと生成内容の信頼性」があげられた。
- AI 活用による治験総括報告書の作成期間短縮により、直接コストとして、約128万～216万ドルの削減が見込まれる。さらに、上市の早期化によって機会損失を回避する効果が約2,560万～4,320万ドルに相当すると試算された。
- FDA・EMA が先行して臨床開発における AI 活用についてのガイダンス整備を進めるなか、日本においても具体的な制度設計と実装指針の策定が急務である。また、製薬企業が AI の

適切かつ継続的な運用を担保するためには、組織横断的なガバナンス体制やポリシーの整備が重要である。

- AI は臨床開発力の強化や新薬の迅速な提供を支える重要なインフラとなりえる、競争激化の中で不可欠な投資対象である。産官学が連携し、既存の枠組みを超えて臨床開発へ柔軟にAIを導入することが日本に求められる。

1. はじめに

近年、人工知能（Artificial Intelligence、以下 AI）技術の急速な進展に伴い、医薬品開発のさまざまな段階において AI の活用が進展している¹⁾。新薬開発の対象は、病態メカニズムが十分に解明されていない複雑な疾患や希少疾患へシフトする中、創薬成功率の低下や研究開発費の高騰が大きな課題となっている。このような背景から、創薬プロセスの効率化や意思決定支援を可能とする AI 技術への期待が世界的に高まっている^{2, 3)}。臨床開発にフォーカスすると、AIは、試験デザイン最適化、適格患者リクルートメント、安全性モニタリング、試験データ解析、承認申請支援など、臨床開発の各プロセスにおける活用可能性が拡大している⁴⁾。加えて、Fortune Business Insights

1) Pontes CB, Netto AV. The use of Artificial Intelligence Algorithms in drug development and clinical trials: A scoping review. Int J Med Inform. 2025 ; 195 : 105798
2) Gangwal A, Lavecchia A. AI-Driven Drug Discovery for Rare Diseases. J Chem Inf Model. 2025 ; 65(5) : 2214-2231
3) Carneiro AS, et al. AI-Driven Drug Discovery : A Comprehensive Review. ACS Omega. 2025.
4) Teodoro D, Naderi N, Yazdani A, et al. A scoping review of artificial intelligence applications in clinical trial risk assessment. npj Digital Medicine. 2025 ; 8 : 486.

の市場調査によれば、世界の臨床開発におけるAI市場規模は継続的な成長が見込まれており、2026年から2034年にかけて年平均成長率約47%で拡大すると予測されている⁵⁾。

米国食品医薬品局(Food and Drug Administration、以下FDA)は2023年に“Using Artificial Intelligence & Machine Learning in the Development of Drug & Biological Products”(以下FDAディスカッションペーパー)を発行し⁶⁾、2025年に“Considerations for the Use of Artificial Intelligence to Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Products”(以下FDAドラフトガイダンス)において、AIを用いた医薬品・生物学的製剤開発に関する規制上の考え方やリスクベース評価の枠組みを提示した⁷⁾。欧州ではAI規制法(以下EU AI Act)が2024年に発効され⁸⁾、各国・地域におけるAI関連の規制整備も着々と進んでいる。日本においては、2025年6月に厚生労働省が「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について2025年版とりまとめ」(以下「2025年版とりまとめ」)を公表し⁹⁾、「AI関連技術を用いた症例分析などへの利活用の促進」、「電子カルテ情報を含む治験・臨床試験に必要なデータの標準化の推進」、および「生成AI等の新たな技術や手法による、医療環境や海外での治験・臨床試験の変化への備え」が明確に盛り込まれた。さらに2025年度には、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(Japan Agency for Medical Research and Development、以下AMED)「医療技術実用化総

合促進事業」において、治験・臨床試験におけるAI利活用推進が政策として取り上げられ、全国6施設での試験的運用が開始されている¹⁰⁾。

本稿は、こうした動向を踏まえ、臨床開発におけるAI活用に関して期待される効果と対処すべき課題を考察するものである。

2. 調査方法

(1) 情報収集

本稿では、2026年4月時点で公開されている「学術論文、プレスリリース、学会発表等」を対象として探索的に情報収集を行った。収集した情報を精査し、検証による定量的な効果が示されたものを対象とした。

(2) 調査上の限界と情報発信の意義

本稿で示す内容は、網羅的・系統的な文献レビューではなく、公開情報をもとに探索的に収集した事例に基づく整理である。そのため、対象事例の選定や情報量には一定の偏りが含まれる可能性がある。また、医療分野におけるAI関連研究の約80%が、研究完了後3年以内に結果を公表していないという報告がある¹¹⁾。この先行知見を踏まえると、本稿の事例網羅性や実態把握の正確性には構造的な限界が存在すると推察される。

こうした限界があるものの、現時点の公開情報を整理することは一定の意義がある。研究開発費の高騰などの課題を抱える日本において、革新的な技術を早期に導入し、臨床開発力を高めていく

5) Fortune Business Insights. AI in clinical trials market size, share & industry analysis, 2026-2034. (参照：2026年5月19日) <https://www.fortunebusinessinsights.com/ai-in-clinical-trials-market-114081>

6) FDA, “Using Artificial Intelligence and Machine Learning in the Development of Drug and Biological Products”, May2023.(Revised February 2025) (参照：2026年5月19日) <https://www.fda.gov/media/167973/download?attachment>

7) FDA, “Considerations for the Use of Artificial Intelligence to Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Products”, January 2025. (参照：2026年5月19日) <https://www.fda.gov/media/184830/download>

8) European Parliament and of the Council, Regulation (EU) 2024/1689 of 13 June 2024 (Artificial Intelligence Act). Official Journal of the European Union, 2024. (参照：2026年5月19日) https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=OJ:L_202401689

9) 厚生労働省 厚生科学審議会 臨床研究部会、「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について2025年版とりまとめ」令和7年6月30日(参照：2026年5月19日) <https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001508986.pdf>

10) 内閣府 健康・医療戦略推進本部、第2回医薬品開発協議会 資料1-2「厚生労働省説明資料」令和8年2月27日(参照：2026年5月19日) https://www.cas.go.jp/jp/seisakukaigi/kenkouiryuu/iyakuhin/iyakuhinkyougikai_dai2/shiryo1-2.pdf

11) Maru S, Kuwatsuru R, Matthias MD, Simpson RJ Jr. “Public Disclosure of Results From Artificial Intelligence/Machine Learning Research in Health Care : Comprehensive Analysis of ClinicalTrials.gov, PubMed, and Scopus Data (2010-2023).” J Med Internet Res. 2025 Mar 21 : 27 : e60148.

ことが必要であり、国内外の事例の効果と課題を具体的な数値とともに可視化することは、製薬企業・規制当局の共通認識の形成と政策検討の参照材料として貢献し得る。

3. 結果

本稿では、検証を伴う定量的な効果が明記されている事例について収集した。そのため、前述の医療分野における AI 関連研究の結果公表における限界¹¹⁾ が反映される形となり、公表情報から確認できた事例数は限定的となった。収集された検証事例は、被験者リクルートメントと臨床試験文書作成の業務プロセスに分類される事例に集中していた (表 1)。以下では、これらの業務プロセス

に焦点を当て、収集事例を軸に詳述する。なお、各事例における AI モデルの仕様や性能指標、検証方法の詳細に関する情報開示は限定的であり、研究間の比較を行うには至らない点に留意されたい。

(1) 被験者リクルートメント

① 主な AI 活用の検証事例と定量的効果

被験者リクルートメントのプレスクリーニングにおいては、電子カルテ、レジストリデータ等を用いた複数国の AI 活用検証事例が報告されていた。特に、自然言語処理 (Natural Language Processing: 以下 NLP) および大規模言語モデル (Large Language Model: 以下 LLM) の発展により、従来は医師や臨床研究コーディネーターが人手で実

表 1 臨床開発の各業務プロセスにおける AI 活用の検証事例

業務プロセス	主な業務内容	AI 活用の検証において定量的な効果が明記されている事例	報告主体	公表媒体 (公表年)
計画・デザイン	臨床開発計画 プロトコル作成 施設選定 当局への治験届提出	・ 治験実施計画書の作成期間 (通常 3～5 か月) を約 20% 削減	塩野義製薬 日立製作所 ²⁰⁾	プレスリリース (2026)
試験実施	IRB・治験契約 被験者リクルートメント 同意取得 投与・観察 症例データの記録・収集 症例モニタリング	・ 専門医による手作業と比較し、プレスクリーニング時間を 98.7% 削減 ^{*1}	Wang, K. et al. ¹²⁾	学術論文 (2024)
		・ 専門医による手作業と比較し、臨床試験と患者の組み合わせにかかる時間を 42.6% 削減 ^{*2}	Jin, Q. et al. ¹³⁾	学術論文 (2024)
		・ 医師による手作業と比較し、プレスクリーニング時間を 1／3 程度削減 ^{*3}	東海国立大学機構 富士通 ¹⁴⁾	プレスリリース (2025)
		・ プレスクリーニング時間を約 70% 削減 (AI 群 15 日以内／手動群 50 日以内) ^{*4}	Unlu, O. et al. ¹⁵⁾	学術論文 (2025)
データ解析・報告	データ固定 統計解析 治験総括報告書作成	・ 治験総括報告書のドラフト作成期間を削減 (約 4 週間→約 2 日)、90% 以上の工数削減	ロゼッタ ¹⁹⁾	プレスリリース (2026)
		・ 治験総括報告書の作成期間 (通常 3～5 か月) を約 50% 削減	塩野義製薬 日立製作所 ²⁰⁾	プレスリリース (2026)
		・ 治験総括報告書の作成期間を 120 日→78 日 (営業日換算) に削減	中村健一ら ²¹⁾	学会発表等 (2026)

(注) プレスクリーニング：診療記録等と臨床試験適格基準を照合し、被験者候補を選定する工程 (臨床試験への参加同意取得前)

- ※ 1 肝細胞癌患者データを用いたレトロスペクティブ研究。1,053 例の診療記録から 2 つの臨床試験の被験者候補を 37 例、67 例選定した。専門医 2 名が手動で 150 時間要したのに対し、AI は 2 時間で選定した。
- ※ 2 6 つの臨床試験と 6 例の患者情報の組み合わせにかかる時間を評価した実証実験。専門医 2 名による組み合わせに対し、AI 活用群で 42.6% の時間削減が確認できた。
- ※ 3 約 1,800 例の診療データと過去に実施済みの 3 つの治験において 42 例の被験者候補を抽出した。過去の被験者候補者の選定にかかった時間と比較し、1／3 程度削減することを確認できた。
- ※ 4 心不全患者を対象とした実際の臨床試験。被験者候補の選定が AI 群 (2,242 例) では 15 日以内、手動群 (2,234 例) では 50 日以内に完了した。

出所：2026 年 4 月時点の公表情報を基に医薬産業政策研究所にて作成

施していた被験者候補のプレスクリーニングや適格性判定の効率化が可能となりつつある。

中国において、大規模EHR（Electronic Health Record）基盤と連携した中央集約型スクリーニングが実装されていた¹²⁾。本事例では、NLPと機械学習（Machine Learning：以下ML）を用いて構造化されていない電子カルテデータから患者背景データを構造化し、必要なデータを抽出した。被験者候補の抽出に手動で150時間要していたが、AIは2時間で選定した（約98.7%削減）。また、専門医2名によるコンセンサスと比較した結果、特異度99.0～99.1%、陰性的中率97.4～98.9%が報告されていた（表2）。これらの結果から、除外判定において特に高い妥当性を示すと結論付けられていた。

米国において、LLMを活用して患者と臨床試験の適合性を自動評価するフレームワークが開発され、実際の患者情報をもとに作成された模擬患者データを用いてその有効性が検証された¹³⁾。従来は医師や臨床研究コーディネーターが手作業で行っていた「患者が各試験の参加基準を満たすかどうかの確認作業」を、AIが自然言語を学習した上で判定するものであった。本事例では試験照合に要する時間を1症例あたり42.6%削減できることが示された。また、AIによる患者と試験の照合の予測精度は87.3%であり、専門家の予測精度（88.7～90.0%）に近いことが確認された。

日本において、構造化されていない診療記録を対象とした情報構造化支援技術による治験候補患者抽出の実証が行われた¹⁴⁾。本実証では、被験者候補の抽出に要する時間が約3分の1に削減された。

米国においては、心不全治療の実臨床試験（CO-

PILOT-HF 試験）での AI 活用事例が報告されていた¹⁵⁾。被験者候補のプレスクリーニングにおいて、構造化されていない診療記録から LLM によって必要な情報を抽出し、臨床試験の適格基準に合致する患者情報が自動抽出されていた。また、人手によるレビュー負荷の削減、ならびにプレスクリーニングに要する時間を削減（AI 群15日以内、手動群50日以内）した（図1A）。適格率では AI 群と手動群は同等（20.8%＝458例／2205例 vs 21.1%＝284例／1347例、P＝.86）であるが、同じ時間の制約の中では、AIによって手動より多くの適格患者を抽出できることが示された（458例 vs 284例）。さらに、AI群では被験者候補をより早期に特定し、適格性判定できた結果、35例（1.6%）が実際の臨床試験登録に至り、手動群の19例（0.9%）を有意に上回った（図1B）。本事例では「AIによる完全自動判定」ではなく、「人が確認すべき症例数を減らす」設計が採用されていた。

② 実装上の主な課題

臨床試験における被験者候補のスクリーニングは、電子カルテやレジストリ等の患者情報を活用して実施される。この工程に AI を効果的に社会実装し、選定プロセスを最適化するためには、「医

表2 AIモデルの特異度と陰性的中率

AI の判定		専門医2名の判定	
		Consider	Exclude
	Consider	TP	FP
	Exclude	FN	TN

$$\text{特異度} = \frac{\text{TN}}{\text{TN} + \text{FP}} \quad \text{陰性的中率} = \frac{\text{TN}}{\text{TN} + \text{FN}}$$

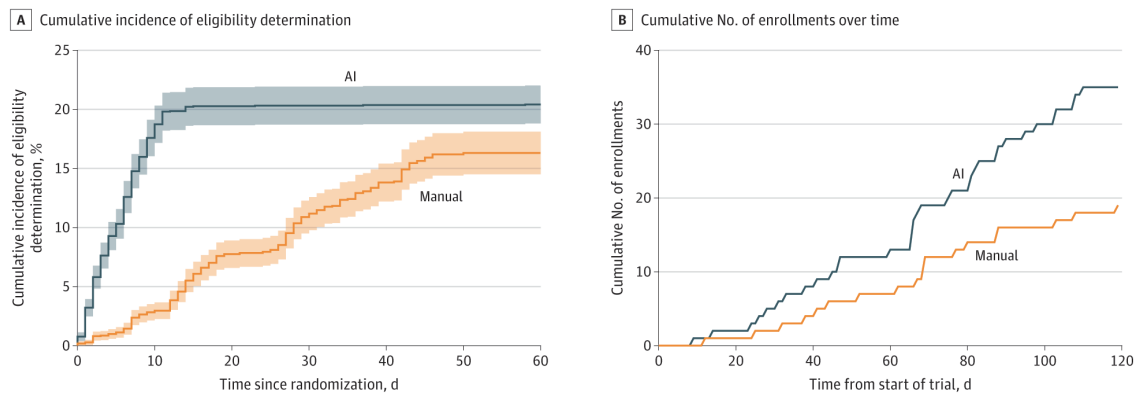
TP：true positive、FP：false positive、

TN：true negative、FN：false negative

出所：文献¹²⁾の記述をもとに医薬産業政策研究所にて作成

- 12) Wang K, Cui H, Zhu Y, Hu X, Hong C, Guo Y, An L, Zhang Q, Liu L. Evaluation of an artificial intelligence-based clinical trial matching system in Chinese patients with hepatocellular carcinoma : a retrospective study. BMC Cancer. 2024 ; 24 : 259.
- 13) Jin Q, Wang Z, Floudas CS, Chen FY, Gong Z, Bracken-Clark D, et al. Matching patients to clinical trials with large language models. Nat Commun. 2024 ; 15 : 9074.
- 14) 富士通株式会社、「生成AIを用いた診療データの活用により治験候補患者の選定に貢献」、2025年5月23日（参照：2026年5月19日）<https://info.archives.global.fujitsu.jp/news/2025/05/23-01.html>
- 15) Unlu O, Varugheese M, Shin J, Subramaniam SM, Stein DWJ, St Laurent JJ, et al. Manual vs AI-Assisted Prescreening for Trial Eligibility Using Large Language Models—A Randomized Clinical Trial. JAMA. 2025 ; 333 (12) : 1084–1087.

図1 Cumulative Incidence of Eligibility Determination and Enrollment



The follow-up period for each participant varied between 1 and 4 months with a mean time from randomization to study end of 81.3 days (SD, 25.8 days). The cumulative incidence estimates represent the probability of eligibility (eligibility state percentage occupancy) at each time point, accounting for competing risks rather than the proportion of patients who ultimately end in each state by the conclusion of the study. Therefore, the plateau of a curve reflects the probability of experiencing the event while considering competing risks and does not directly equate to the final observed proportions of patients in each state. The bands around the lines in part A represent 95% CIs. For the patients who could complete screening, the proportion of eligible patients was similar between the groups (20.8% [458/2205] for the artificial intelligence [AI] screening group and 21.1% [284/1347] for the manual screening group; $P = .86$). For patients who completed eligibility screening, more than 99% of patients were identified within 15 days in the AI group and within 50 days in the manual group. At the end of the trial, the AI group had 37 patients remaining to be screened vs 887 patients in the manual group.

出所：文献¹⁵⁾

療情報記録の品質」と「AIによる選択バイアス」において解決すべき課題が存在する。

(a) 医療情報記録の品質

米国の事例では、AI活用においては診療記録の「データのばらつき」や「曖昧さ」がAIアルゴリズムに影響する課題であると述べられており¹³⁾、AIの性能はデータの量・質に依存する。

電子カルテはAI活用を前提として記録されおらず、記載の詳細度は医療機関ごとに異なる。自由記述には、略語や表記揺れを含む非構造化データも多い。これらを活用するためには、情報の構造化等の前処理と、その品質確認を要する。一方、診療記録の作成は医療従事者の大きな負担となっており、音声認識技術などを導入して記録を充実させつつ、負担を軽減する効率的な方式への転換も求められている¹⁶⁾。

また、「2025年版とりまとめ」においては「電子カルテ情報を含む治験・臨床試験に必要なデータ

の標準化」が明確な課題として挙げられており、医療情報の活用に向けた国全体の一体的な仕組みと調和したプロセス構築が望ましい。

(b) AIによる選択バイアス

被験者候補の選定にAIを活用することは、公平性、差別や選択バイアスといった技術面・倫理面の課題も考慮する必要がある¹⁷⁾。例えば、診療記録上の不完全な情報等に起因して選択バイアスが存在すると、AIモデルの精度が低下し、被験者候補の選定に偏りが生じる可能性がある。AIモデルが学習データ内のバイアスを引き継ぐことで、不公平な判断を招くケースが指摘されている。この対策として、サンプルサイズの拡大、他コホートでの検証、追跡期間の延長、異なるデータサブセットの使用などが提案されている。

16) Nishiyama T, et al. “Automated System to Capture Patient Symptoms From Multitype Japanese Clinical Texts : Retrospective Study.” JMIR Medical Informatics. 2024 ; 12 : e58977.

17) Lu X, Yang C, Liang L, Hu G, Zhong Z, Jiang Z. Artificial intelligence for optimizing recruitment and retention in clinical trials: a scoping review. J Am Med Inform Assoc. 2024 ; 31

(2) 臨床試験文書作成

① 主な AI 活用の検証事例と定量的効果

日本において、生成 AI を活用した臨床試験文書作成の検証事例が報告されていた。治験実施計画書、治験総括報告書（Clinical Study Report、以下CSR）等の作成プロセスでは、多数の関連文書・解析結果・統計情報を統合しながら高い整合性を維持する必要があるため、メディカルライターや開発担当者の業務負荷は大きい。近年の生成 AI 技術の発展により、臨床・規制文書作成において、要約生成、ドラフト作成、テンプレート準拠の支援、文書間整合性向上等への活用可能性が報告されている¹⁸⁾。

本稿で対象とした事例では、AIは治験実施計画書およびCSRのドラフト生成に活用され、いずれの事例においても、文書作成期間短縮や工数削減等の定量的効果が報告されていた。

ロゼッタによるCSR自動ドラフティング事例では、Retrieval-Augmented Generation 技術（以下 RAG 技術：生成 AI が学習していない情報を外部データベースとして補完する技術）を活用した CSR ドラフト生成が実施されていた。従来、約 4 週間を要していた CSR ドラフト作成期間が約 2 日へ短縮され、90% 以上の工数削減効果が確認されている¹⁹⁾。根拠文書をアップロードすることで章ごとのドラフトを自動生成するとともに、AI が生成した文書が参照した原文箇所をハイライトで表示する引用元表示機能が実装されている。

塩野義製薬、日立製作所による事例では、生成 AI を活用した規制関連文書作成支援ソリューションが導入されていた²⁰⁾。規制関連文書の作成には通常 3～5 か月を要し、文書作成の中心的役割

を担うメディカルライターの実作業は 1 試験あたり 100～280 時間に及ぶ。本事例では、CSR の作成時間を約 50%、治験実施計画書の作成時間を約 20% 削減できることが報告されていた。本ソリューションは、日本語と英語が混在する大量の治験関連情報から必要事項を抽出・要約し、治験実施計画書や CSR のドラフトを自動生成する機能を備えている。

中村健一らによる国立がん研究センター中央病院での事例では、RAG 技術を活用した CSR ドラフト自動作成ツールにより CSR 作成期間が営業日換算で 120 日から 78 日へ短縮されている²¹⁾。また、生成された CSR の精度評価として、「治験の総括報告書の構成と内容に関するガイドライン²²⁾」に基づく各章のうち、第 1 章、第 5 章～第 9 章を対象として生成文書の品質を評価した結果、大部分がそのままもしくは最小限の微修正で利用可能であることを確認している。

② 実装上の主な課題

臨床試験文書は、単なる提出文書ではなく新薬の価値を証明する科学的・倫理的証拠であり、信頼性が求められる。しかし、先行研究では「ハルシネーションと生成内容の信頼性」に関する課題があげられていた。臨床テキスト要約を対象とした研究では、1.47% のハルシネーション率が報告されており、そのうち 44% は患者診断や管理に影響を及ぼし得る重大なエラーと評価された²³⁾。

本稿で収集した事例では、AI による自動生成で完結させるのではなく、専門家の確認を前提とした Human-in-the-loop の運用が採用されていた。一例をとりあげると、中村健一らによる国立がん研

18) Ramachandran RK, Linenbach TJ, Ceppi CJ, Modi AG. Reimagining Clinical and Regulatory Medical Writing With Generative AI. AMWA Journal. 2024 ; 39(2).

19) 株式会社ロゼッタ、「ラクヤク AI、CSR ドラフト作成期間を 90% 以上短縮」、2026 年 4 月 21 日（参照：2026 年 5 月 19 日）<https://prtimes.jp/main/html/rd/p/000000807.000006279.html>

20) 塩野義製薬株式会社、「塩野義製薬と日立、生成 AI を活用した医薬品開発の規制関連文書作成支援ソリューションを提供開始」、2026 年 2 月 24 日（参照：2026 年 5 月 19 日）<https://www.shionogi.com/jp/ja/news/2026/02/20260224.html>

21) 内閣府 健康・医療戦略推進本部 第 2 回医薬品開発協議会 資料 4 「中村参考人説明資料」令和 8 年 2 月 27 日（参照：2026 年 5 月 19 日）https://www.cas.go.jp/jp/seisakukaigi/kenkouiryou/iyakuhin/iyakuhinkyougikai_dai2/shiryō4.pdf

22) 治験の総括報告書の構成と内容に関するガイドラインについて（平成 8 年 5 月 1 日 薬審第 335 号 各都道府県衛生主管部（局）長あて 厚生省薬務局審査課長通知（参照：2026 年 5 月 19 日）<https://www.pmda.go.jp/files/000156923.pdf>

23) Puchner S, Scharinger B, Schollkopf C, et al. "A framework to assess clinical safety and hallucination rates of LLMs for medical text summarization." NPJ Digit Med. 2025 ; 8 : 158.

究センター中央病院での事例²⁴⁾では、RAG技術とAIが生成した文書のデータソースの参照箇所をハイライトで示す機能によって、ハルシネーションの有無を確認できる仕組みがとられていた。

4. 考察

本稿では、被験者リクルートメントおよび臨床試験文書作成にAIを活用することにより、臨床試験の迅速化に寄与する検証事例が確認された。革新的新薬を患者さんに一日でも早く届け、人々の健康や安全・安心に貢献することは、製薬産業の使命であり、関係府省と一体となって取り組みを進める必要がある²⁴⁾。以下に、本稿での事例を踏まえて、臨床試験におけるAI活用の推進に向けての考察を示す。

(1) 経済性の視点から見るAI活用の意義

① 一部の業務プロセスにおけるAI活用がもたらす短期的な経済効果

本稿で確認された臨床試験におけるAI活用効果の事例は、被験者リクルートメントと臨床試験文書作成に集中していた。被験者リクルートメントに要する期間や業務負荷は、疾患領域や臨床試験の規模・デザインにより大きく変動する。一方、臨床試験文書作成の期間や業務負荷は変動幅が小さいと考えたため、本節ではCSR作成期間の短縮効果を例として経済的意義を推計する。

本節における経済性評価には、Tufts Center for the Study of Drug Development (以下Tufts CSDD)が2023年後半に実施した、医薬品開発における遅延コストの推計値を用いる²⁵⁾。臨床試験直接コストについては、2016～2021年の447件のプロトコル予算データの分析に基づき、フェーズⅡ・Ⅲ試験の1日あたり平均直接コストは約4万ドルと推計

されていた。また、販売機会の損失については、2000年以降に世界で発売され2022年時点で売上実績がある医薬品および生物学的製剤645品目を対象とした分析に基づき（最初の承認国：米国61%・日本17%、領域：腫瘍28%・中枢神経系27%）、1日あたり約80万ドルと推計された。

複数の調査結果から推計したAI活用によるCSR作成期間の短縮効果は約32～54営業日である。Tufts CSDDの上記推計を用いて算出すると、同期間の臨床試験直接コスト削減として約128万～216万ドルの削減効果が見込まれる。さらに上市の早期化によって機会損失を回避する効果は約2,560万～4,320万ドルと推計される。

なお、本推計は適応疾患、試験デザインや規模等により大きく変動するため、あくまで参考値として解釈する必要がある。また、CSR作成という単一工程のみを対象としており、AI活用が被験者リクルートメントや他の臨床開発業務へ波及することで、経済効果はさらに拡大すると考えられる。

② 臨床開発プロセス全体のデジタル化・自動化による長期的な経済効果

単一工程を越え、臨床開発プロセス全体のデジタル化・自動化がもたらす経済効果を予測する参考情報として、Digital Data Flow (以下DDF)の取り組みを参照する。DDFは、臨床試験の定義情報を電子化・構造化し、上流から下流まで連携する仕組みの確立を目指している。つまり、治験実施計画書のデータや情報を活用し、臨床試験ライフサイクル全体のデジタル化・自動化を推進する取り組みである²⁶⁾。

Nurocor, Inc.によれば、DDF実装による効果の試算として、開発期間全体を8か月短縮し、臨床試験直接コストのみで800万ドルの削減が見込ま

24) 厚生労働省 医政局 医薬産業振興・医療情報企画課、第2回創薬力向上のための官民協議会ワーキンググループ、令和7年9月22日、資料7「令和8年度概算要求事項について（創薬力向上に向けた関連施策）」（参照：2026年5月19日）<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001566554.pdf>

25) Zachary S, Getz K, Kaitin K. Quantifying the value of a day of delay in drug development. Tufts Center for the Study of Drug Development White Paper. 2025 Feb. (参照：2026年5月19日) <https://csdd.tufts.edu/sites/default/files/2025-02/Aug2024%20Day%20of%20Delay%20White%20Paper%20Final.pdf>

26) 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タスクフォース4「ICH M11導入後の医薬品開発への影響」、2025年10月（参照：2026年5月19日）https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/vm46850000001y9y-att/ICH_M11_20251024.pdf

れると報告されていた²⁷⁾。前述の推計を適用すれば、開発期間8か月(240日)の短縮に相当する上市の早期化によって機会損失を回避する効果は1億9,200万ドルに上り、CSR作成の単一工程のみの試算と比較して、臨床開発プロセス全体のデジタル化・自動化の効果がいかに大きいかが示される。

以上の経済的分析は、製薬業界共通の課題である研究開発費の高騰の緩和に繋がる。ひいては、収益構造の改善を通じて研究開発投資の継続性を高め、患者の治療アクセスの向上と持続的なイノベーションの創出による「価値の好循環」をもたらすことが期待される。

(2) 製薬企業におけるガバナンス体制・業務フローの整備

実際の臨床試験における被験者リクルートメントにて、AIが非構造化データを構造化・抽出することで、専門家を支援する設計が報告されていた。また、臨床試験文書作成ではAIはドラフト生成に活用され、レビューは専門家が実施する設計となっていた。AIはハルシネーションを起こし得るリスクがあり、Human-in-the-loop設計は単なる運用上の慎重さにとどまらず、臨床試験の信頼性・公平性を担保するための対応策である。

FDA および EMA は2026年1月、“Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development”(以下 AI Principles)を公表した²⁸⁾。AI Principlesでは、「Human-centric by design」が掲げられ、「AI技術は倫理的・人間中心的価値観に沿い、専門家の意思決定を支援する形で設計されるべきである」と明記されている。また、EU AI Actでは、AIを用いた意思決定において、人間が

効果的に監督できるよう企業に監督の仕組みを設計・確保することを求めている⁸⁾。

製薬企業がAIの適切かつ継続的な運用を担保するためには組織横断的なガバナンス体制の整備や、AIの利用目的や責任範囲を明確化したポリシーの整備が重要となる。加えて、臨床試験にAIを活用する上での業務フローを明確化したSOP(Standard Operating Procedures)の策定が期待される。

(3) ガイダンス等発出の意義

2024年にTufts CSDDが実施したグローバル調査によれば、「ほとんどの臨床試験で再現可能なプロセスでAIを活用している」と回答した企業は10.7%にとどまる一方、「臨床試験でAIを活用していない」と回答した企業は36.9%に上った²⁹⁾。このような状況に対し、FDAドラフトガイダンス(2025年)やAI Principles(2026年)の発出は、業界全体におけるAI活用を後押しする可能性がある。こうしたガイダンス等の明確化は、医薬品開発における新技術導入の障壁である「承認プロセスの不確実性」³⁰⁾を低減させると考えられる。同時に、AI導入未着手の企業や医療機関に対しても導入を促す契機となり、産業全体の底上げにつながると考えられる。

日本において、「2025年版とりまとめ」では治験・臨床試験の質を向上するとともに効率化を促進し、日本国内の治験・臨床試験の活性化を促していくためにAI利活用推進の方向性が示されている。しかし、2026年4月時点で臨床試験におけるAI活用について示したガイダンス等は発出されていない。FDA・EMAが先行してガイダンス

27) Malfait F, et al. DDF: The art of the possible becomes reality. CDISC Japan Interchange 2024. (参照: 2026年5月19日) <https://nurocor.com/cdisc-japan-interchange/>

28) FDA & EMA. Guiding Principles for Good AI Practice in Drug Development Joint Statement, January 14, 2026. <https://www.fda.gov/media/189581/download>

29) Lamberti MJ, Florez MI, Do H, et al. The Adoption and Use of Artificial Intelligence and Machine Learning in Clinical Development. Ther Innov Regul Sci. 2025; 59(5): 1074-1086.

AI/MLを用いた臨床開発に関する知見を有する製薬・バイオ企業、CRO、データ/テクノロジーベンダー等の医薬品開発の専門家302名(34ヶ国)が回答。回答者の地域構成は北米51.4%、欧州26.2%、その他地域(日本、中国、インド等を含む)22.4%

30) M. Bujar, N. McAuslane, and L. Liberti, “The Qualitative Value of Facilitated Regulatory Pathways in Europe, USA, and Japan: Benefits, Barriers to Utilization, and Suggested Solutions,” *Pharmaceutical Medicine*, Vol. 35, pp.113-122, 2021.

整備を進めるなか、日本においても具体的な制度設計と実装指針の策定が急務であると考えられる。

さらに、ICH M11をはじめとする国際標準の普及は、生成 AI および DDF による臨床試験プロセス自動化を支える基盤となり得る。日本がこの潮流へ適切に対応することは、革新的治療法を迅速に患者へ届ける社会基盤整備の観点からも重要な意義を有すると考えられる。

5. おわりに

本稿は、2026年4月時点における公開情報の探索的調査を通じ、臨床試験の被験者リクルートメントと文書作成支援における AI 活用の定量的効果と課題を整理した探索的研究の第1報である。AI 活用の実質的な効果がある事例が確認された一方、これらはいずれも一部の検証事例であり、

実装が広く普及しているとの結論を導くものではない。本稿の結果はあくまで「どのような条件下で AI 活用が進んでいるか」を示す探索的なエビデンスとして解釈されたい。

しかしながら、こうした事例が示す効果の規模は、AIが単なる業務効率化にとどまらず、臨床開発力の強化と患者への迅速な新薬提供を支えるインフラとなり得ることを示唆している。研究開発費の高騰と国際競争の激化が続く中、AIを投資対象として位置づける重要性は一段と高まっている。今、日本に求められているのは、産官学が連携して、既存の枠組みに捉われず柔軟に AI を臨床開発に活用していくことに他ならない。本稿が、臨床開発における AI 活用の可能性と課題を浮き彫りにし、今後の政策立案・実務・研究における議論を深化・加速させる一つの契機となれば幸いである。

主な活動状況（2026年3月～2026年6月）

3月	2日	政策研ニュース No.77 発行	
	11日	ポジションペーパー・シリーズ No.12 発行	健康医療情報の利活用に関する社会的受容の条件 － 国民・医師への意識調査から －
	18日	製薬協 メディアフォーラム 講演	健康医療情報の利活用に関する国民意識調査の結果概要
	23日	ポジションペーパー・シリーズ No.13 発行	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
	31日	ポジションペーパー・シリーズ No.14 発行	日本版 Patient-Reported Outcome（PRO）コンペンディウム － 第3相臨床試験の実態編 －

レポート・論文紹介（2026年3月～）

ポジションペーパー・シリーズ No.12 発行

「健康医療情報の利活用に関する社会的受容の条件 ― 国民・医師への意識調査から ―」

【要旨】

日本における健康医療情報の利活用に対する社会的受容の条件を明らかにするため、国民2,900名・医師212名を対象に Web アンケート調査（2025年11月）を実施した。国民の二次利用への賛成意向は54.8%と過半数を占めたものの、OECD 平均（64%）を下回る中位水準にとどまった。医師の賛成意向は69.3%と国民を上回った。

国民の賛成意向を規定する最大の要因は「期待するメリットの数の多さ」であり、メリットの種類よりも数が重要で、4項目以上の提示が効果的であることが示された。次いで「不安・抵抗感のなさ」と「医療機関への普段からの信頼」が続き、匿名加工の知識やヘルス・デジタルリテラシーも有意な促進要因となった。

医療情報の利活用に不安を感じる層の約8割は「漠然とした不安」にとどまり、具体的なりスク認識に基づくものではなかった。このことは、個別の制度説明よりも、制度全体への信頼醸成を図る包括的なコミュニケーションが重要であることを示唆している。

国民が最も信頼する情報源は「主治医やかかりつけの医療従事者からの説明」である一方、患者・家族への二次利用の説明に自信を持つ医師は約4割にとどまり、説明責任の主体として政府・行政機関を挙げる声が多かった。この乖離を埋めるには、医師が短時間で要点を示せる説明ツールの整備や、医療機関をハブとした情報提供体制の構築が重要である。総じて、社会的受容を高める好循環を生み出すためには、各主体が固有の役割を果たしながら相互に連携し、メリット認識の向上と不安の解消に向けた丁寧な情報発信および制度設計による透明性の確保を一体的に推進することが不可欠である。

ポジションペーパー・シリーズ No.13 発行

「創業オリジネーターおよび創業支援環境の都市圏間比較」

【要旨】

各都市間圏間の創業エコシステムを比較するには、広範なインプット、アウトプット指標を収集する必要があるが、多くを収集するには限界がある。しかしながら、評価指標の一部だけでも可視化を試みたいと考え、手始めとして、主な新薬創出国における主要19都市の、プロダクトを見出したオリジネーター企業数、開発パイプライン数、CDMO拠点数、ディール数、製薬企業の本社数、研究拠点数を調査し定量化を行い可視化を試みた。

得られた情報をボルダカウントで定量化し、19都市を7つにグルーピングした。第1グループにはボストン、ニューヨークが属し、調査した項目においては、グローバルでも突出した創業エコシステムを持つ都市圏であった。第2グループは、各指標で高い充足レベルを示すが、トップ2都市にはわずかに及ばない都市が属し、サンフランシスコ、ロンドンそして東京が含まれた。大阪は第5グループであった。

調査対象の項目においては、東京・大阪は他国の主要都市圏とは異なる特徴が確認できた。日本の創業エコシステムの成長を促す基礎データの一助となるよう調査対象を増やしていく。

【要旨】

近年、臨床試験におけるPatient-Reported Outcome (PRO) の活用は、患者視点を反映した医薬品評価の一要素として重要性が高まっている。当研究所ではポジションペーパーNo.10において、PRO の多様な意義と国内外での活用状況や課題を整理しその重要性を改めて提示した。その中では日本で実施された臨床試験における PRO の組み込み状況についても整理を行った。

本稿はこれらを踏まえ、日本で実施された第3相試験において実際にどのようなPRO尺度 (Patient-Reported Outcome Measure : PROM) が利用されているのかを体系的に整理することを目的とする。採用された尺度の種類や領域別傾向を可視化することで、日本の医薬品開発の現場における PRO 活用の実態を具体的に把握する。

本稿は各公開情報に基づいて日本で実施された第3相試験における PRO 活用の実態を整理したものである。ポジションペーパーNo.10では、PRO の多面的な価値を整理し活用の重要性を改めて提示したことに対し、本稿は国内の医薬品開発で採用された PRO 尺度の内容およびその傾向に着目し、疾患領域別・測定目的別の構造的特徴を整理する。これにより日本における PRO 活用の具体像を明らかにし、今後の検討や議論の基礎情報となることを目指す。

なお、本稿は規制当局の公式見解や承認審査の判断基準を示すものではなく、特定の制度的立場を示すことを目的とするものではない点にご留意いただきたい (本稿の「本調査の限界と留意事項」に詳細を記載)。

政策研メンバー紹介

政策研に新メンバーが加わりましたので、以下に紹介します。

①名前	②所属	③興味のあるテーマ、抱負
〈2026年3月1日より〉		〈2026年4月1日より〉
① 内海 拓郎（主任研究員）		① 海江田 功（主任研究員）
② エーザイ株式会社		② 第一三共株式会社
③ MR 経験後に、認知症新薬のアクセス支援、日本医療研究開発機構（AMED）でヘルスケアサービスの社会実装支援を行ってまいりました。直近では、費用対効果評価を含めた value based pricing や認知症領域のアドボカシー活動に従事していました。政策研では、製薬産業が抱える政策課題に対し、調査研究によりエビデンスを創出し、課題解決に寄与してまいりたいと思います。		③ 本業務機会をいただき、心より感謝申し上げます。前職での薬理研究経験を経て、第一三共では事業開発・オープンイノベーションに従事し、アカデミアや他社との協業を推進してまいりました。AI利用を含めオミクスデータの充実・モダリティ多様化など創業環境が大きく変化し、何らかの形で外部イノベーションとの連携が必須になりつつあります。これまでの経験を活かし、ファクトベースで情報収集と分析を行い、製薬産業における創薬等の課題抽出・解決案の策定などに、少しでも貢献したいと考えております。
〈2026年4月1日より〉		〈2026年4月1日より〉
① 神地 沙織（主任研究員）		① 下山田 浩平（主任研究員）
② 日本新薬株式会社		② Meiji Seika ファルマ株式会社
③ 入社以来、新薬の上市および適応拡大において、販売戦略の策定や営業企画業務、ならびに学術支援に携わってきました。医療現場や社内外の関係者との連携を通じ、医薬品の適正使用と価値浸透に取り組んでおりました。今後は、患者視点に立った創薬・育薬の実現をより一層推進していきたいと考えています。臨床試験で得られたエビデンスと実臨床との間に存在するギャップを埋めるため、リアルワールドデータの活用を促進するとともに、医薬品の価値を最大化するための多様な評価軸の在り方について検討していきたいと考えております。		③ MR として入社し、大学病院／基幹病院を中心に多くの医療従事者へ情報提供・収集活動を行い、また直近では営業推進業務を行ってまいりました。政策研では製薬業界全体を俯瞰し、データに基づく課題抽出・提言を行うことで製薬産業の発展に貢献していきたいと思っています。またこれまでの営業前線に属していた経験を活かし、中長期的には製薬産業が医療従事者や国民に、今より貢献できている未来を常に見据えながら研究活動に邁進してまいります。

〈2026年4月1日より〉

- ① 鍋島 竜介（主任研究員）
- ② 小野薬品工業株式会社
- ③ 入社以来、研究本部に所属し、創薬初期段階の化合物スクリーニングを手始めに、研究効率を高めるための技術プラットフォームの導入や新規モダリティ研究への挑戦を通じて、創薬研究の幅と深みを広げてまいりました。これらの経験を通じて、基礎研究の成果を患者さんに喜ばれる医薬品へと結びつけることの難しさを実感しています。今後は、政策研での活動を通じて、研究現場と社会をつなぐ視点から創薬エコシステムの発展に貢献し、我が国の創薬産業のさらなる活性化に寄与していきたいと考えています。

〈2026年4月1日より〉

- ① 日比野 翔（主任研究員）
- ② 中外製薬株式会社
- ③ 臨床開発と経営企画の経験を活かし、国民の生活を支える基盤としての産業の持続的成長に貢献したいです。産業が直面する課題を可視化するとともに、ステークホルダーの皆様と対話を重ね、協働・共創を通じて、実効力のある政策提言を目指します。

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所
OPIR

Office of Pharmaceutical Industry Research

政策研ニュース
2026年7月発行

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

TEL 03-5200-2681

FAX 03-5200-2684

MAIL opir-sp@jpma.or.jp

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

無断転載を禁ずる