

- 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.78 要約

- 要約（日本語） … 2 ページ

- 要約（英語） … 5 ページ

- Office of Pharmaceutical Industry Research

OPIR Views and Action No.78

- Summary (Japanese) … page 2

- Summary (English) … page 5

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

- ・ 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。

円・ドルからみた日本の医療用医薬品市場

- ・ 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企業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 年間の製薬協会企業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。

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

- ・ 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。

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

- ・ 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。

Pharmaceutical Industry at a Glance

Development Status of Pharmaceuticals for Unmet Medical Needs

- The development status of new pharmaceuticals in Japan was analyzed based on the results of the seventh Medical Needs Survey. This survey was conducted in 2024 by the Laboratory of Social Pharmacy at Meiji Pharmaceutical University, taking over the initiative from the Human Science Promotion Foundation.
- As of November 2025, 20 domestic and foreign pharmaceutical companies were developing 368 new drug candidates targeting 60 diseases. Development has focused on diseases in the "first quadrant"—where both treatment satisfaction and drug contribution are high—accounting for 302 items (82.1%). This concentration has increased since the previous survey and is expected to increase further.
- Ten diseases were categorized into the "third quadrant," where both treatment satisfaction and drug contribution remain low. While systemic sclerosis and multiple sclerosis were moved to the "second quadrant" due to increased drug contributions, amyloidosis and developmental disorders (both added in this survey) were included in the "third quadrant."
- Regarding modalities, in addition to traditional antibodies, multispecific antibodies and antibody-drug conjugates (ADCs) have emerged. The development of nucleic acid drugs and protein/peptide drugs is also increasing, indicating the further diversification of therapeutic modalities.
- Among drugs for malignant tumors, the number of New Molecular Entity (NME) developments was highest for four diseases: lung cancer, breast cancer, malignant lymphoma, and prostate cancer. Lung cancer drugs, which represented one-third of all oncology developments, were concentrated in Phase 3, raising expectations for future approvals and expanded treatment options. This analysis also confirmed that modality diversification is progressing for non-malignant tumor drugs.
- For systemic sclerosis and multiple sclerosis, which were moved from the third to the second quadrant, drugs launched after the previous survey have been positioned as standard treatments in clinical guidelines, contributing to the fulfillment of unmet medical needs.
- While there was no significant difference between Japan and the United States in the approval status of drugs for the 10 diseases in the third quadrant, a major gap existed in pipeline product counts and modality diversification. In the United States, development is actively pursued by both major pharmaceutical companies and start-ups.
- The significant disparity between Japan and the United States in startup-led development for third-quadrant diseases raises concerns regarding the potential expansion of "drug lag" and "drug loss" in these areas. To address unmet medical needs, key challenges include fostering Japanese start-ups, supporting pharmaceutical companies' drug discovery, and assisting with the introduction of promising assets.

The Japanese Prescription Drug Market from the Perspective of the Japanese Yen and the United States Dollar

- The APC (Annual Percent Change) (hereinafter “Domestic Sales APC”) was 0.9%, and the APC adjusted for the GDP deflator (hereinafter “Real Sales APC”) was -0.2%, which was lower than the 15-year Domestic Sales APC of 1.4% and Real Sales APC of 0.6%. Furthermore, when considering only Japanese-affiliated companies, the domestic sales APC was 0.1% and the real sales APC was -0.9%, which represented a significant decline compared with the 15-year domestic sales APC of 0.7% and real sales APC of -0.1% for Japanese-affiliated companies.
- Over the 10-year period, the APC for domestic sales (in yen) for member companies of the Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA) was 0.7%, and the real sales APC was -0.3%, which was lower than the 15-year APC for domestic sales of JPMA member companies, which stood at 0.9%, and the real sales APC of 0.1%. Furthermore, over the 10-year period, the domestic sales APC for Japanese-affiliated companies that are JPMA members was -0.5%, and the real sales APC was -1.5%, which was even lower than the domestic sales APC of -0.1% and the real sales APC of -0.9% for Japanese-affiliated companies that are JPMA members over the 15-year period.
- Domestic sales over the past 15 years, measured in yen, showed a gradual upward trend. On the other hand, when measured in United States dollars, sales trends for the top 70 domestic companies have been on a sustained declining trend since 2011, and the decline has been particularly marked in recent years; even though they operate in the same Japanese market, these trends showed a clear difference from those measured in yen.

Points of View

The Use of Patient-Reported Outcome Measure (PROM) Data in OECD Member Countries, as Seen in an OECD Report

- This report summarizes the findings of a 2025 survey on the current status of data collection and utilization of Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) across 38 OECD member countries. Data were analyzed from the perspectives of policy status, collection technologies, collection environments, collection entities, purposes of use, users, usage environments, and rights and legal frameworks.
- The report indicated that PROM initiatives are progressing in 27 countries and that systematic PROM data collection and utilization by national or local governments is becoming widespread in 24 countries.
- PROM data were collected primarily through electronic health records, paper-based forms, and mobile applications and were linked to various databases, including those maintained by government agencies and registries.
- PROM data are frequently used by healthcare professionals primarily to improve and ensure the quality of care. However, its use by policymakers, patients, and citizens is limited.
- Approximately 40% of respondents indicated that their countries had legal frameworks related

to PROM data collection. In promoting the use of PROM data, respondents cited the need for national and policy-level support, development of information technology infrastructure, staff training, and raising awareness regarding its utilization.

An Exploratory investigation on the Effects and Challenges of AI Utilization in Recent Clinical Development

— Patient Recruitment and Clinical Trial Documentation —

- This study conducted an exploratory investigation of the effects and challenges of AI use in clinical development. Based on the findings verified as of April 2026, several case studies presenting quantitative evidence on the effects of AI have been identified, primarily in two domains: patient recruitment and clinical trial documentation.
- In a case study on AI utilization for patient recruitment, a clinical trial achieved approximately a 70% reduction in prescreening time. The principal challenges identified were the data integrity of the medical records and AI-induced selection bias.
- In a case study on AI utilization for clinical trial documentation, the cycle time for preparing a clinical study report (CSR) was reduced from 120 to 78 days. The principal challenges identified were hallucinations and the reliability of AI-generated content.
- The reduction in the CSR cycle time achieved through AI utilization is estimated to yield out-of-pocket cost savings of approximately USD 1.28–2.16 million. Furthermore, the opportunity cost avoided by earlier market entry was estimated at approximately USD 25.6–43.2 million.
- Although the FDA and EMA have taken the lead in developing regulatory guidance on AI utilization in clinical development, there is an urgent need in Japan to formulate concrete regulatory frameworks and implementation guidelines. Furthermore, ensuring the appropriate and sustained operation of AI systems requires pharmaceutical companies to establish cross-functional governance structures and policies.
- AI has the potential to serve as critical infrastructure that strengthens clinical development capabilities and enables rapid delivery of new therapies, representing an indispensable investment amid intensifying competition. Japan should foster collaboration among industry, government, and academia, and flexibly integrate AI into clinical development, going beyond the constraints of existing frameworks.