日米欧の新薬承認状況の比較（2025年）

医薬産業政策研究所　主任研究員　富樫満里子
主任研究員　神地　沙織

要約

●2025年に日米欧で承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間等を調査、比較した。また、希少疾病用医薬品の優先審査の状況や、欧米で既承認の医薬品における国内未承認薬の最近動向について整理した。

●2025年の国内の全承認品目数は133品目、New Molecular Entity（新有効成分含有医薬品：以下、NME）数が44品目であった。米国では全承認品目数が120品目、NME数が46品目であった。欧州では全承認品目数が189品目、NME数が43品目であった。また、新規に承認された再生医療等製品の数は日本２品目、米国５品目、欧州３品目であり米国が前年に引き続き最多となった。

●日本で承認された希少疾病用医薬品は前年を上回り過去最高となる43品目（全承認品目中32.3％）であった。優先審査品目は33品目（全優先審査品目中91.7％）と前年に引き続き全優先審査品目の大半を占めた一方で、10品目（全希少疾病用医薬品中23.3％）は優先審査非該当であった。

●日本の審査期間の中央値は全承認品目で10.3か月、NMEで9.6か月であり、特にNMEでは日米欧で最小の数値を示した。

●2021～2025年末毎に調査期間５年間に欧米で承認されたNME数とそのうち国内における未承認薬数を集計した結果、その数値は徐々に減少し、2025年の５年移動合計で142品目55.7％となった。うち、2026年８月の調査時点において開発情報（前臨床～承認済みを含む）がある品目は49.3％（70品目）、開発情報がない品目は39.4％（56品目）、開発中止/続報なしの品目は7.0％（10品目）、掲載がない品目が4.2％（６品目）であった。

１．はじめに

医薬産業政策研究所では、日本、米国、及び欧州の医薬品の承認情報に関して、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）、U. S. Food and Drug Administration（以下、FDA）及びEuropean Medicines Agency（以下、EMA）がホームページ等で公表する情報をもとに継続的に収集、分析している。日米欧における新医薬品の承認状況や審査制度の運用実態を継続的に把握し、その変化を検証することは、患者アクセスの向上や創薬環境の整備に向けた議論の基礎資料として重要である。

本稿では、政策研ニュースNo.76[1)]で報告した日本、米国及び欧州で承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間等の情報に2025年の承認情報を加え調査、比較するとともに、希少疾病用医薬品の最近の規制動向と優先審査の状況、政策研ニュースNo.63[2)]で議論した国内未承認薬に関わる最新の分析結果を整理、報告する。

1）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）
2）医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ：国内未承認薬の状況とその特徴」、政策研ニュースNo.63（2021年７月）

2．調査方法

日本の調査対象はPMDAホームページの「新医薬品の承認品目一覧」[3]に掲載されている医薬品とし、品目数は審査報告書毎にカウントすることを基本に、同一成分の品目を複数企業が同時申請した場合や併用薬物療法にて複数成分が承認された場合は1品目として集計した。日本承認品目におけるNMEの集計は、申請区分が新有効成分含有医薬品に該当するものを対象とした。各品目の承認情報は、審査報告書、添付文書、「新医薬品の承認品目一覧」及び薬務公報から抽出した。申請日は審査報告書に記載される申請日とし、承認日は「新医薬品の承認品目一覧」に記載された承認日とした。

米国の調査対象は、FDAホームページの「CDER Drug and Biologic Approvals for Calendar Year」[4]に掲載されているNew Drug Application（NDA）及びBiologic License Application（BLA）に該当する医薬品とした。NMEの集計は、「CDER New Molecular Entity（NME）and Original Biologic Approvals Calendar Year」[5]に掲載されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、FDAホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目のApproval Letterに記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載されたApproval Dateとした。

欧州の調査対象は、EMAが中央審査方式にて承認し、「European Medicines Agency Annual Reports」[6]に掲載された医薬品を対象とした。NMEの集計は、「New active substance」に分類されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、EMAホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目のAssessment Reportに記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載されたMarketing authorization issuedの日付とした。

薬事上の特別措置として、日本では優先審査、希少疾病用医薬品、先駆的医薬品指定制度（先駆け審査指定制度）、条件付き承認制度、迅速審査を、米国ではPriority Review、Orphan、Fast Track、Breakthrough Therapy、Accelerated Approvalを、欧州ではAccelerated Assessment、Orphan、Priority Medicine（PRIME）、Conditional Approval、Exceptional Circumstancesを対象に集計した。

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

本稿における日本及び米国の承認数の集計対象は上記のとおりであり、再生医療等製品については対象外である。一方で欧州の集計対象には再生医療等製品に相当する品目も含まれる。再生医療等製品の承認数の推移をみるため、新規に承認された再生医療等製品数については以下を対象に別途集計した。日本は、PMDAホームページの「新再生医療等製品の承認品目一覧」[7]に掲載されている品目のうち承認・一変別が「承認（条件及び期限付き承認を含む）」または「新規」として記載された品目を対象とした。米国は、FDAホームページの「Approved Cellular and Gene Therapy Products」[8]に掲載されている品目を対象として初回の承認を受けた年を承認年として集計した。欧州は、ATMP（Advanced therapy medicinal

3）独立行政法人医薬品医療機器総合機構、承認情報、
https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html
4）Food and Drug Administration（FDA）、NDA and BLA Calendar Year Approvals、
https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/nda-and-bla-calendar-year-approvals
5）Food and Drug Administration（FDA）、New Molecular Entity（NME）Drug and New Biologic Approvals、
https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/new-molecular-entity-nme-drug-and-new-biologic-approvals
6）European Medicines Agency（EMA）、Annual reports and work programmes、
https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes
7）独立行政法人医薬品医療機器総合機構、新再生医療等製品の承認品目一覧、
https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/ctp/0004.html

products）指定[9]を受けて承認された品目に加え、日米の上記集計に該当する品目を対象とした。

３．結果

⑴　新医薬品の承認品目数の日米欧比較

①　新医薬品の承認品目数

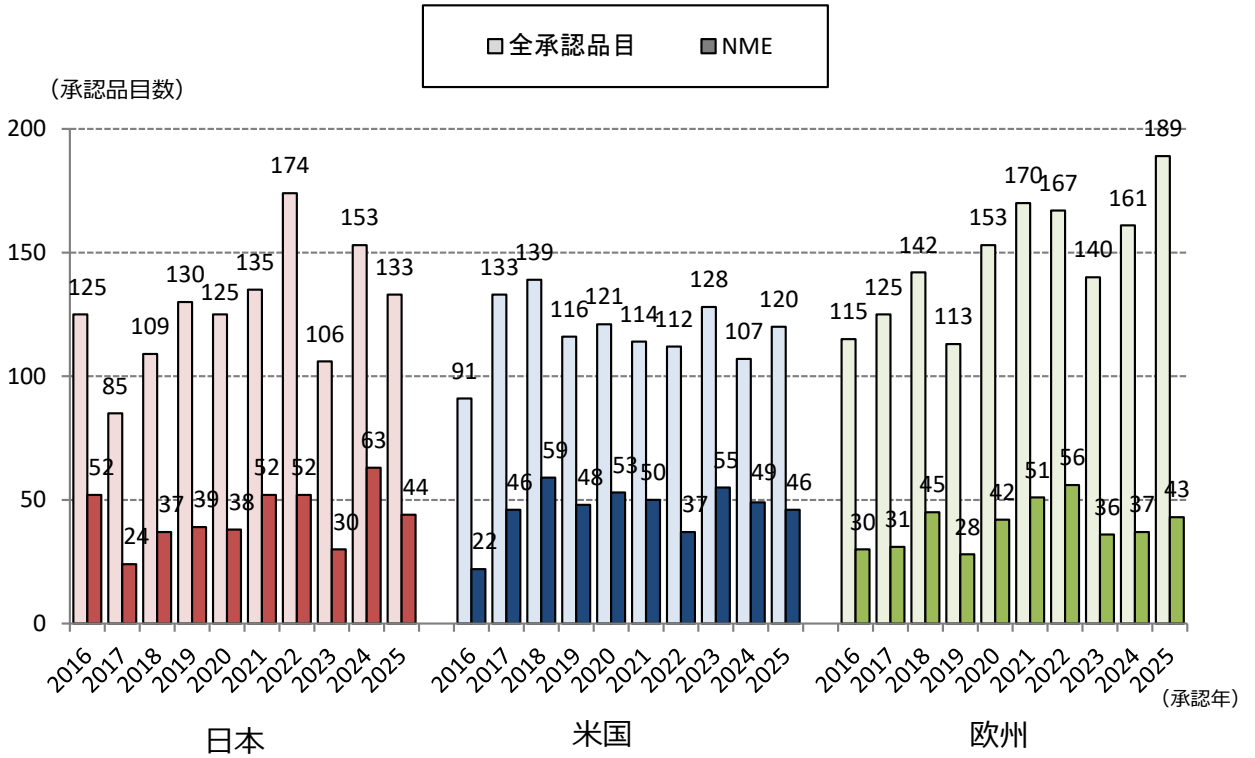
過去10年間（2016～2025年）の日本、米国、及び欧州で承認された新医薬品の承認品目数を図１に示した。2025年の日本における承認品目数は133品目であり、そのうち NME は44品目であった。米国では120品目が承認され、NME は46品目であった。欧州では189品目が承認され、NME は43品目であった。米国の推移において特徴的な増減は認められなかった一方、欧州では NME は例年と同程度の数値であったものの、全承認品目数は日米を大きく上回り、過去10年間で見ても最も高い数値を示した。

②　再生医療等製品の承認品目数

日本、米国、及び欧州で承認された再生医療等製品に相当する製品の新規承認数（2016～2025年）を図２に示した。2025年の新規承認品目数は、日本２品目、米国５品目、欧州３品目であり、米国が昨年に引き続き最も多い承認実績を示した。

日本で承認された２品目はいずれも欧米で先行承認実績を有する品目で、１品目は条件及び期限付承認制度の適用品目であった。これに対して米国は５品目すべてが米国先行承認品目であり、欧

図１　過去10年間の日米欧の承認品目数

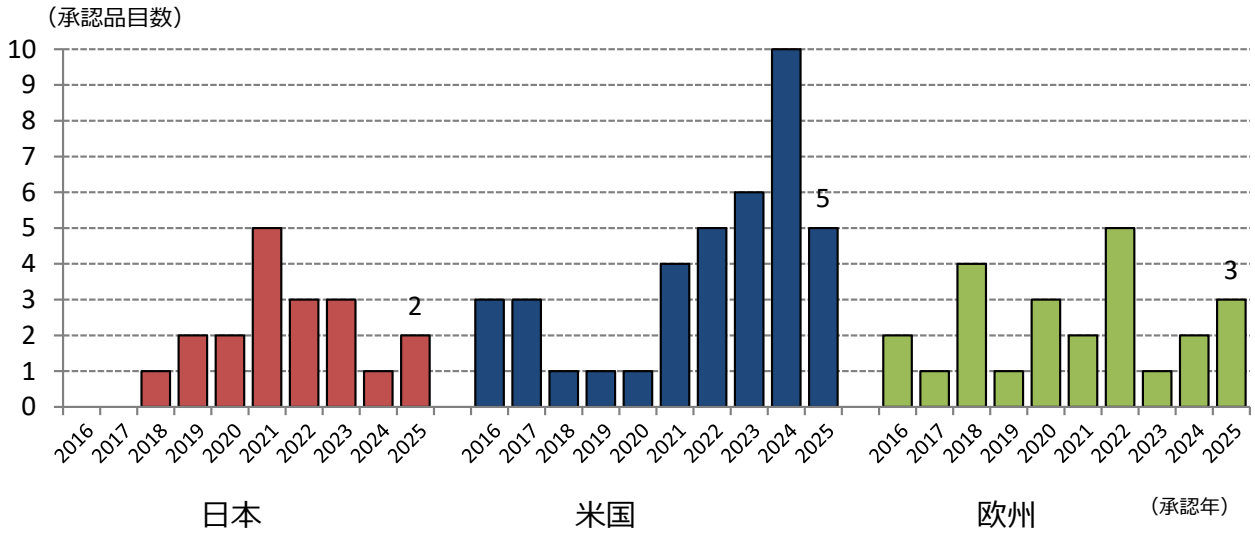


注：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

8）Food and Drug Administration（FDA）、Approved Cellular and Gene Therapy Products、https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products（参照：2026/８/31）

9）European Medicines Agency（EMA）、Advanced therapy medicinal products：Overview、https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview（参照：2026/８/31）

図２　再生医療等製品の新規承認数（2016～2025年）



注：日本の2018年の１品目、2019年の１品目（ただし、2024年に承認失効）、2021年の１品目、2024年の１品目、2025年の１品目は条件及び期限付承認である。
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

州では欧州先行承認品目が１品目認められた。

⑵　国内の承認品目内訳

①　新医薬品の承認品目数とその内訳

2016～2025年の間に日本で承認された新医薬品の承認品目数の年次推移及び品目の内訳を表１に示した。2025年には133品目が承認され、そのうちNME は44品目であり、申請区分別の構成は例年と概ね同様であった。

審査区分別の内訳は、通常審査品目が97品目、優先審査品目は36品目であった。希少疾病用医薬品は前年を上回り過去最高となる43品目（全承認品目中32.3%）であり、うち優先審査品目は33品目（全優先審査品目中91.7%）と前年に引き続き全優先審査品目の大半を占めた。加えて、希少疾病用医薬品指定において優先審査の対象外であったが、特定用途医薬品として優先審査対象となった希少疾病用医薬品が１品目認められた。

先駆的医薬品指定制度の対象品目はなく、条件付き承認制度の対象品目は１品目で、アバシンカプタド ペゴルナトリウム（アイザベイ® 硝子体内注射液）が、萎縮型加齢黄斑変性における地図状萎縮の進行抑制を効能・効果として承認された。迅速処理品目の承認数は５品目で、このうち４品目が事前評価済公知申請品目であった。2025年の特例承認制度による承認は2024年に引き続き認められなかった。

②　申請企業内訳（承認年毎;2016～2025年）

2016～2025年の間に日本で承認されたNME の申請企業について、内資・外資の内訳を図３に、製造販売業者とオリジネーターの企業分類の割合を図４に示した。

2019年を境に外資企業の割合が増加傾向にあり、2025年には内資が29.5%（13品目）、外資70.5%（31品目）と10年間で最も高い割合を占めた。

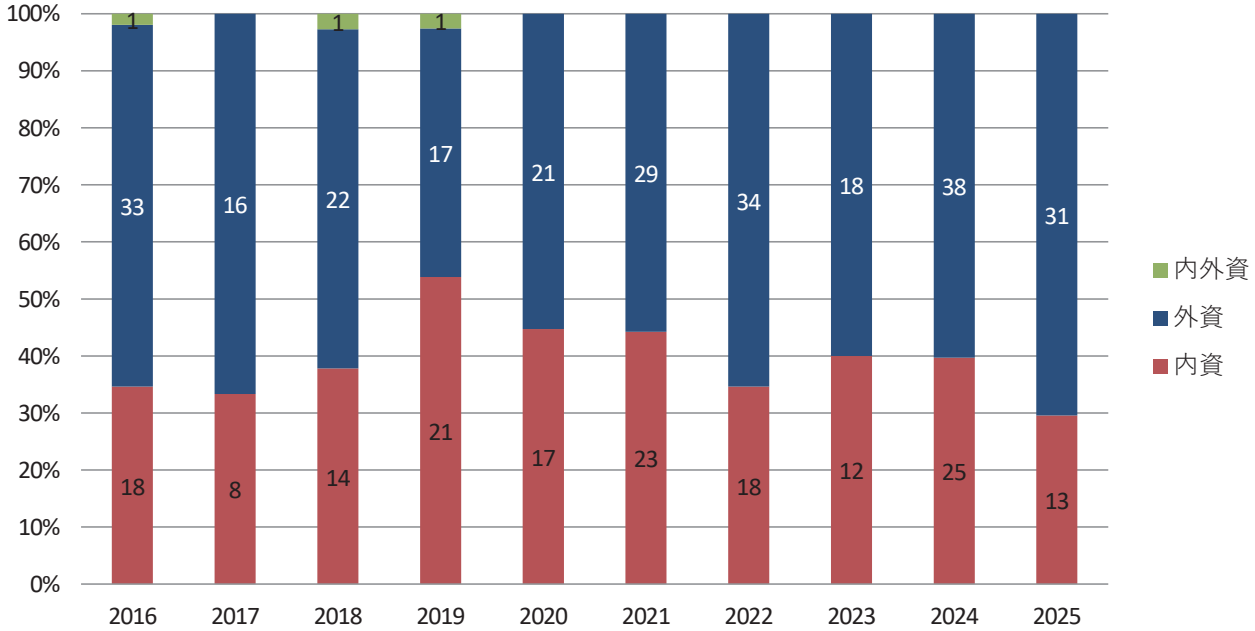
2025年承認の NME の製造販売業者における企業分類をみると、Global Major が最も多く40.9%（18品目）であり、Specialty 34.1%（15品目）、Regional Major 15.9%（７品目）と続き、上位３分類でほぼ９割を占めた。さらに製品のオリジネーターに遡り企業分類を調査したところ、Biotechnology 43.2%（19品目）が最も多く、次にGlobal Major　20.5%（９品目）、Specialty 18.2%（８品目）であり、Universityも6.8%（３品目）認められた。なお、オリジネーター企業の内訳は内資13.6%（６品目：Regional Major ３品目、Specialty ２品目、Biotechnology １品目）、外資81.8

表１　新医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2016～2025年）

品目特性	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
承認品目数	125	85	109	130	125	135	174	106	153	133
部会審議品目	96	49	67	79	80	97	89	59	100	82
部会報告品目	29	36	42	51	45	38	85	47	53	51
新有効成分含有医薬品（NME）	52	24	37	39	38	52	52	30	63	44
（%）	(41.6)	(28.2)	(33.9)	(30.0)	(30.4)	(38.5)	(29.9)	(28.3)	(41.2)	(33.1)
新医療用配合剤	8	2	5	5	5	2	2	0	3	1
新投与経路医薬品	6	4	4	6	6	5	10	5	1	7
新効能医薬品	45	36	40	45	58	51	86	52	62	51
新剤型医薬品	1	2	1	3	2	0	2	1	2	1
新用量医薬品	11	14	15	18	12	21	17	15	18	21
バイオ後続品	1	2	6	8	2	4	2	3	2	7
類似処方医療用配合剤	1	1	1	1	2	0	1	0	2	1
その他の医薬品	0	0	0	5	0	0	2	0	0	0
希少疾病用医薬品	33	19	32	35	23	40	31	22	41	43
（%）	(26.4)	(22.4)	(29.4)	(26.9)	(18.4)	(29.6)	(17.8)	(20.8)	(26.8)	(32.3)
通常審査品目（迅速処理品目含む）	86	61	71	92	91	82	129	75	106	97
優先審査品目	39	24	38	38	33	44	37	27	47	36
うち、希少疾病用医薬品	33	19	32	35	23	40	31	22	41	33
うち、希少疾病以外の優先審査品目	6	5	6	3	10	4	6	5	6	3
うち、先駆的医薬品指定制度対象品目	−	−	3	2	5	2	1	0	1	0
うち、条件付き(早期)承認制度対象品目	−	−	2	0	3	0	0	0	0	1
迅速処理品目	5	11	9	13	3	11	46	13	15	5
うち、事前評価済公知申請品目	5	5	9	5	3	3	30	7	7	4
特例承認/緊急承認に係る品目	0	0	0	0	1	9	8	4	0	0

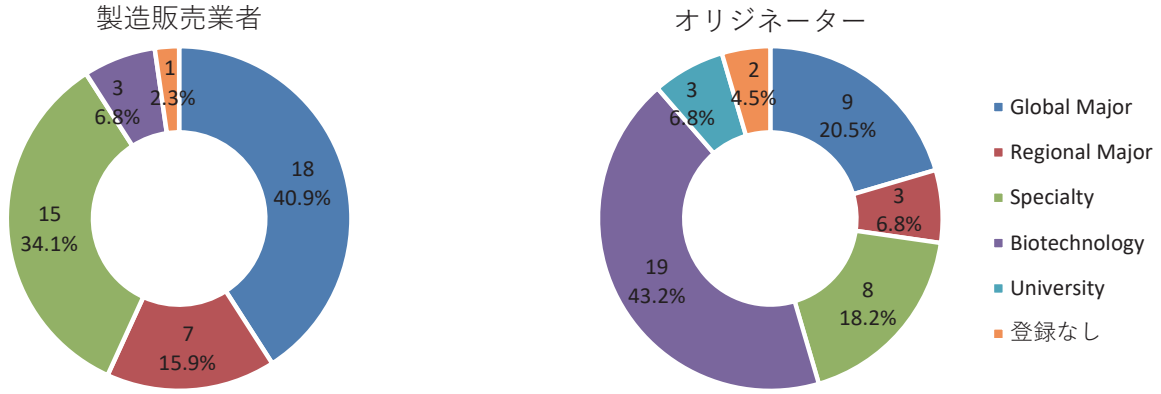
注１：複数の申請区分に該当する品目は上位の区分に含めた。
注２：希少疾病用医薬品（HIVを除く）における「優先審査・優先相談」該当品目、HIV感染症治療薬、希少疾病以外の優先審査品目を「優先審査品目」とした。
注３：迅速審査品目及び事前評価済公知申請品目を「迅速処理品目」とした。
注４：希少疾病用医薬品のうち「優先審査・優先相談」該当品目かつ迅速審査品目は、希少疾病用医薬品の区分を優先し「優先審査品目」とした。
注５：特例承認として承認を受けた2020年の１品目、2021年の９品目、2022年の７品目及び2023年の４品目は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅速には分類せずに「特例承認に係る品目」とした。
注６：2022年緊急承認１品目は、特例承認品目と同じ区分に合算して集計した。
注７：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
注８：令和６年１月16日付「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正により、希少疾病用医薬品のうち優先審査該当品目のみが優先審査の対象とされることとなったため、希少疾病用医薬品指定品目数の項目を追加表記した。
注９：2025年の希少疾病以外の優先審査品目において、希少疾病用医薬品指定において「優先審査・優先相談」非該当であったが、特定用途医薬品として優先審査された１品目を含む。
出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）、及び薬務公報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図３　NMEにおける申請企業分類別割合（承認年毎；2016～2025年）



注：図中の数字は品目数。
出所：新医薬品の承認品目一覧をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図４　NME における製造販売業者及びオリジネーターの企業分類の割合



注：Evaluate Pharma®の企業分類に基づき集計した。1つの企業に対して複数の企業分類が割り当てられている場合は、より規模の大きい企業分類を採用。

Global Major	世界の処方薬売上高上位20社。
Regional Major	特定地域で新薬の開発・販売を行う大手製薬企業。自社研究または導入・提携により、複数の治療領域において上市品やパイプラインを保有する企業が含まれる。
Specialty	自社研究を行う一方、新規化合物（NME）の開発に限定せず、既存製品の改良や特定治療領域に特化した企業。
Biotechnology	新規医薬品（NME/BLA）の開発を主軸とする企業。
University	学術研究を行う高等教育機関。

出所：新医薬品の承認品目一覧、Evaluate Pharma®（2026年８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）

％（36品目）、不明（情報の登録なし）が4.5％（２品目）であった。

⑶　薬事制度活用状況と審査期間

①　薬事上の特別措置を受けた NME 承認品目

日米欧で過去５年間（2021～2025年）に承認された NME のうち、各地域の薬事上の特別措置を受けた品目数を図５に示した。

2025年に日本で承認された NME 44品目中、優先審査は18品目（40.9％）、希少疾病用医薬品は21品目（47.7％）であり、前年に引き続き高い水準を示した。

米国では、2025年に承認されたNME 46品目中、Priority Review は24品目（52.2％）、Orphan 指定品目は23品目（50.0％）、Fast Track指定品目は９品目（19.6％）、Breakthrough Therapy 指定品目は16品目（34.8％）、Accelerated Approvalは11品目（23.9％）であった。2025年の米国 NME 数は2024年に引き続きわずかに減少し、薬事上特別措置を受けたNME数も多くの措置で減少、特にFast Track 指定品目数は前年から大きく減少（22→９品目）した。一方で、Accelerated Approvalの指定品目数は前年より増加（７→11品目）が認められた。

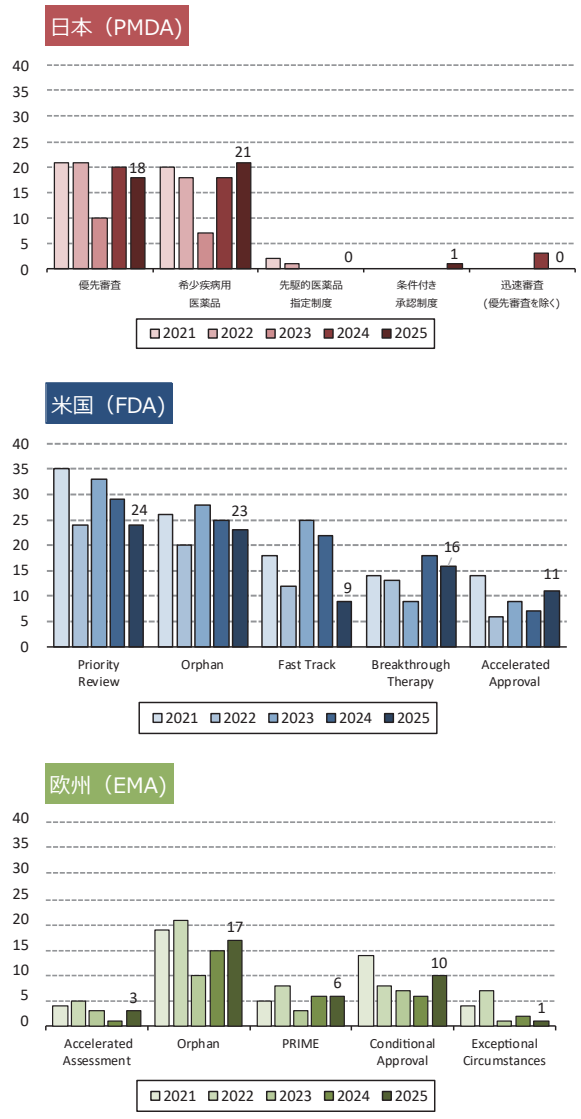
欧州については、2025年に承認された NME 43品目中、Accelerated Assessmentは３品目（7.0％）、Orphan 指定品目は17品目（39.5％）、PRIME 指定品目は６品目（14.0％）、Conditional Approval は10品目（23.3％）、Exceptional Circumstances は１品目（2.3％）であった。欧州では NME 数が前年に引き続き増加し、薬事上特別措置を受けたNME数についても多くの措置で増加が認められた。

②　審査期間と年次推移

過去10年間（2016～2025年）の日本、米国及び欧州で承認された医薬品の全承認品目ならびに NME における審査期間の中央値、平均値の年次推移を図６に示した。

2025年の日米欧の全承認品目における審査期間はそれぞれ中央値で10.3か月、10.0か月、12.5か月、平均値で10.4か月、17.4か月、12.4か月であり、また、NME 品目では中央値で9.6か月、11.7か月、14.6か月、平均値で10.0か月、13.8か月、16.0か月であった。

図５　薬事上特別措置を受けたNME数



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

審査期間の中央値においては日米欧共に年次推移の大きな変動はなく、日本は全承認品目について米国と同等の水準を維持し、特にNMEでは昨年より更なる短縮が認められ、日米欧で最も短い中央値（9.6か月）を示した。

一方で、平均値の推移をみると、日本及び欧州ではそれぞれ全承認品目で9.1～11.0か月、11.8～13.0か月、NMEで10.0～13.0か月、12.9～16.0か月で推移し、大きな変動は認められないが、米国では全承認品目で13.8～22.7か月、NMEでは9.7～18.9か月と年毎に大きく変動する傾向がみられた。全承認品目とNMEを比較すると、日本では両者の差は比較的小さく推移した。日本、欧州ではNMEの審査期間が全承認品目をやや上回る傾向がみられたのに対し、米国では年による変動が大きいが、全承認品目がNMEの審査期間よりも相対的に長い傾向が認められた。また、標準偏差は日本及び欧州では比較的小さい一方、米国では品目間の審査期間の変動が大きいことが示唆された。

2025年に日本で承認されたNME品目について、日本先行又はFDA／EMAでも2025年に承認されたほぼ同時期の承認品目とFDA又はEMA先行の承認品目の審査期間の比較を図７に示した。日本先行又はほぼ同時承認品（14品目：平均値10.7か月、2025年内に承認された品目はほぼ同時品目としてカウント）とそれ以外の品目（30品目：平均値9.7か月）との間で審査期間に統計的な有意差は認められなかった（Welchのt検定、p=0.128）。

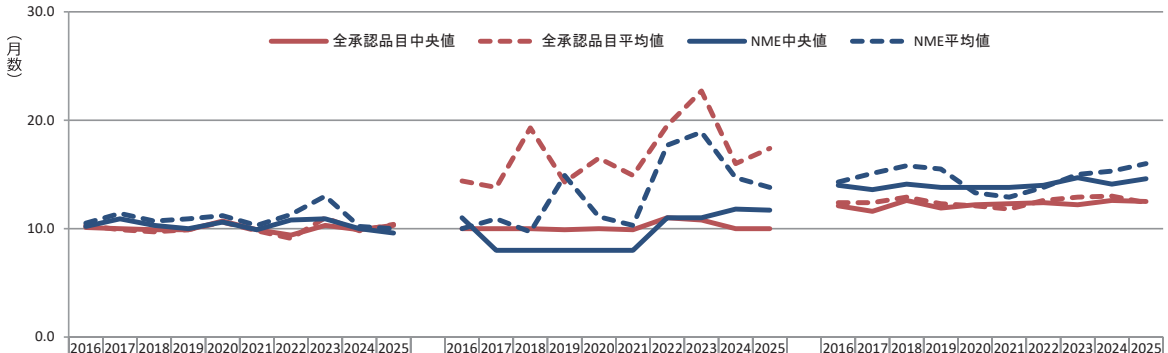
NMEのうち審査期間の短縮を目的とした薬事上の特別措置（日本：優先審査、先駆的医薬品指定制度、米国：Priority Review、Breakthrough Therapy、欧州：Accelerated Assessment、PRIME）を受けた品目の審査期間については表２に示した。

日本での2025年のNMEにおける優先審査品目数は18品目であり、審査期間の中央値、平均値はそれぞれ8.3か月、8.3か月であり、引き続き短期間で推移した。審査期間のばらつき（標準偏差）も1.0か月と非常に小さく安定していた。先駆的医薬品指定制度指定品目のNME承認は直近３年間で認められていない。

米国での2025年のNMEにおけるPriority Review指定品目数は24品目であった。審査期間（中央値）は8.0か月と直近３年で変化なく維持されていた。Breakthrough Therapy指定品目数は16品目、Accelerated Approval指定品目数は11品目で、審査期間（中央値）は8.0か月、7.8か月とPriority Reviewと同様に短期間で推移した。

欧州では、2025年のAccelerated Assessment指定品目数は３品目で審査期間（中央値）は7.8か月と、指定を受けていない品目と比較して約７か月短かった。一方、PRIME指定品目数は６品目で、審査期間（中央値）は14.8か月であった。PRIME

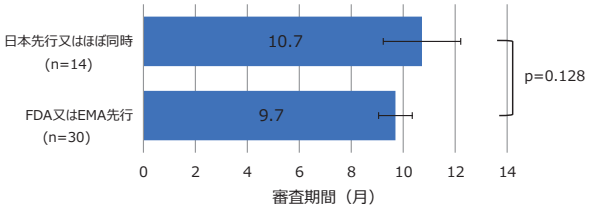
図６　審査期間（中央値・平均値）の推移（2016年～2025年）



	日本										米国										欧州									
	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
全承認品目中央値	10.1	10.0	9.9	9.9	10.7	9.9	9.4	10.3	9.9	10.3	10.0	10.0	10.0	9.9	10.0	9.9	11.0	10.8	10.0	10.0	12.1	11.6	12.6	11.9	12.2	12.3	12.4	12.2	12.6	12.5
全承認品目平均値	10.3	9.9	9.7	9.9	10.6	9.8	9.1	11.0	9.8	10.4	14.4	13.8	19.3	14.3	16.5	14.9	19.5	22.7	16.0	17.4	12.4	12.4	12.9	12.3	12.1	11.8	12.6	12.9	13.0	12.4
全承認品目標準偏差	3.4	3.4	4.8	3.3	5.7	2.6	3.6	8.6	2.5	6.3	12.7	16.5	21.7	20.1	18.8	15.4	21.2	32.6	15.6	16.5	4.4	6.2	5.4	5.1	4.4	4.6	5.7	5.2	5.5	4.7
NME中央値	10.2	10.9	10.3	10.0	10.6	9.9	10.8	10.9	10.0	9.6	11.0	8.0	8.0	8.0	8.0	8.0	11.0	11.0	11.8	11.7	14.0	13.6	14.1	13.8	13.8	13.8	14.0	14.7	14.1	14.6
NME平均値	10.5	11.4	10.7	10.9	11.2	10.3	11.3	13.0	10.2	10.0	10.0	10.9	9.7	14.9	11.1	10.3	17.7	18.9	14.7	13.8	14.3	15.1	15.8	15.5	13.3	12.9	13.8	15.0	15.3	16.0
NME標準偏差	3.9	3.7	7.0	4.8	8.9	3.0	4.4	13.3	2.2	2.1	3.7	7.5	5.3	25.8	8.6	5.1	25.3	38.0	10.6	11.5	4.3	8.3	5.3	5.5	4.4	5.9	5.2	5.2	4.0	4.6

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

図７　承認時期別審査期間



注：同年内に承認された品目はほぼ同時品目として算出した。Welch の t 検定の結果、有意差は認められなかった（p=0.128）。

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

は審査期間短縮よりも開発段階からの支援を目的とした制度であるため、Accelerated Assessment とは異なる特徴を示していると考えられる。

⑷　希少疾病用医薬品

①　日米欧の希少疾病用医薬品

過去10年間（2016～2025年）の日本、米国、及び欧州で承認された NME 承認品目のうち希少疾病用医薬品の品目割合の推移を図８に示した。

日本では過去10年間のNME承認品目数431品目中希少疾病用医薬品は142品目（32.9%）であるのに対し、米国では465品目中235品目（50.5%）、欧州では399品目中146品目（36.6%）であった。日本が３極では最も低い水準である一方、米国が継続的に高い割合で推移している。特徴的な数値として、日本では、2025年に急激な増加が認められ（47.7%）、欧州の水準を超え、米国の数値に迫る値を示した。

②　優先審査該当／非該当別審査期間

2025年の日本における希少疾病用医薬品の承認品目数は表１で示したように43品目（全承認品目中32.3%）と増加した一方で、そのうち10品目（全希少疾病用医薬品中23.3%）は優先審査が非該当であった。ただし、希少疾病用医薬品で「優先審査・優先相談」非該当であった１品目は特定用途医薬品として優先審査されたため、希少疾病用医薬品のうち優先審査されなかった品目は９品目であった。

特定用途医薬品として優先審査された１品目を含む優先審査該当品目（n＝34）と非該当品目（n＝９）の審査期間について有意差検定を行った結果を図９に示した。優先審査該当品目の平均審査期間は8.3か月、非該当品目は11.1か月であった。両群の平均差は2.8か月（95%信頼区間2.2-3.4か月）であり、優先審査該当品目の審査期間は有意に短かった（Welch の t 検定、p<0.001）。

③　国内希少疾病用医薬品の制度変更

図８で認められた日本における NME 承認品目数の希少疾病用医薬品の増加は、2024年１月の通

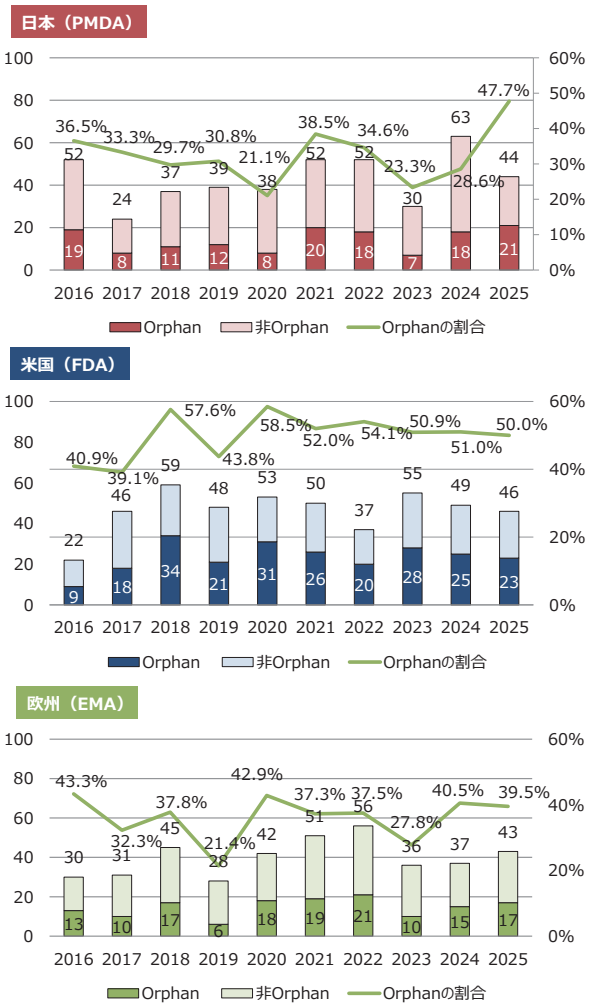
表２　薬事上特別措置を受けたNMEの審査期間

	承認年	NME			
		N	審査期間（月数）		
			中央値	平均値	標準偏差
日本（PMDA）					
優先審査	2025年	18	8.3	8.3	1.0
	2024年	20	8.1	8.7	2.5
	2023年	10	8.4	9.0	4.8
先駆的医薬品指定制度	2025年	0	–	–	–
	2024年	0	–	–	–
	2023年	0	–	–	–
通常審査	2025年	26	11.3	11.2	1.8
	2024年	40	10.9	11.2	1.4
	2023年	20	11.1	15.0	15.7
米国（FDA）					
Priority Review	2025年	24	8.0	11.0	11.2
	2024年	29	8.0	12.7	11.7
	2023年	33	8.0	12.2	9.1
Breakthrough Therapy	2025年	16	8.0	14.2	15.6
	2024年	18	8.0	12.3	10.8
	2023年	9	8.0	12.7	7.7
Accelerated Approval	2025年	11	7.8	10.0	4.7
	2024年	7	8.0	8.0	0.6
	2023年	9	8.0	8.5	1.4
Standard Review	2025年	22	12.0	16.7	11.3
	2024年	20	12.0	17.5	8.2
	2023年	22	12.0	28.9	58.4
欧州（EMA）					
Accelerated Assessment	2025年	3	7.8	7.9	0.2
	2024年	1	8.1	8.1	–
	2023年	3	8.0	7.9	0.3
PRIME	2025年	6	14.8	14.1	5.5
	2024年	6	13.1	12.3	2.5
	2023年	3	11.1	10.0	2.2
上記以外	2025年	36	14.7	16.6	4.2
	2024年	31	14.3	15.9	4.0
	2023年	31	15.4	15.9	5.0

注：日本の優先審査に、先駆的医薬品指定制度、希少疾病用医薬品の優先審査該当を含む。
出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

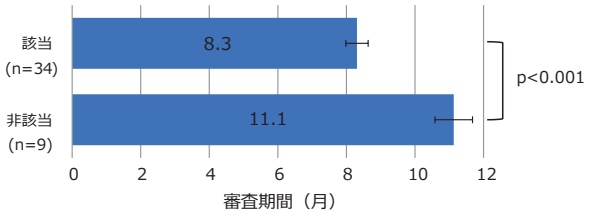
知改正[10]による影響が考えられる。希少疾病用医薬品指定制度の主な改正ポイントを以下に整理した。本改正において指定の要件が一部拡大となり、また開発早期の段階での指定が可能となった。一方、優先審査及び優先相談の対象は従前の範囲に限定されたため、優先審査の対象とならない品目

図８　NME品目に占める希少疾病用医薬品の割合推移



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

図９　希少疾病用医薬品における優先審査該当／非該当別審査期間



注：希少疾病用医薬品としては優先審査非該当であったが、特定用途医薬品として優先審査された１品目は「優先審査該当」として算出した。Welchのｔ検定の結果、有意差が認められた（p<0.001）。
出所：PMDAの公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

10）厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知　医薬薬審発0116第１号／医薬機審発0116第１号「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について（令和６年１月16日）https://www.pmda.go.jp/files/000268405.pdf

が生じることとなった。（補足１）

【希少疾病用医薬品指定制度の主な改正ポイント】

●患者数の「輪切り」申請の考え方

医学薬学上の根拠のない「輪切り」申請は認めない一方、年齢層、治療ライン、リスク分類等に基づき、高いアンメット・メディカル・ニーズがあり開発が進んでいない患者集団を対象とする場合は「輪切り」に該当しないことが明確化された。

●アンメット・メディカル・ニーズを踏まえた指定

既承認薬が存在する場合であっても、既存治療のみでは十分でなく、複数の治療選択肢が臨床的に必要とされる場合は指定対象となることが明確化された。

●非臨床段階からの指定

国内での開発計画を有し、初回投与試験の実施に必要な非臨床試験が概ね完了した段階で指定申請が可能であることが明確化された。

●優先審査・優先相談の適用要件

希少疾病用医薬品の指定と優先審査・優先相談の適用が切り分けられ、優先審査・優先相談は別途要件を満たす品目に適用されることとなった。また、開発の進展に応じた再評価の仕組みが明確化された。

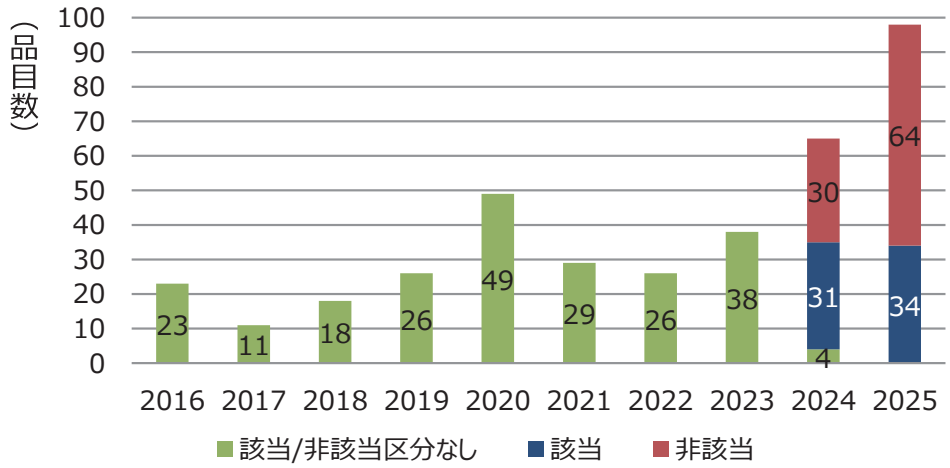
また、各年毎に新たに希少疾病用医薬品に指定された品目の推移を優先審査の該当・非該当の情報とともに整理した（図10）。2024年１月の通知改正以降に新たに指定された品目数は2024年に65品目、2025年に98品目と大幅な増加傾向を示した。一方で、優先審査該当品目数は2024年に35品目（該当／非該当区分なし品目を含む）、2025年に34品目と例年と同水準で推移しており、通知改正前は一律で優先審査とされた希少疾病用医薬品の優先審査該当割合は2024年に53.8％、2025年には34.7％と大幅に減少した。

(5)　国内未承認薬

①　国内未承認薬数・割合の推移

政策研ニュース No.63 で報告した国内未承認薬数のその後の推移を確認するため、同様の手法によって、2017年から2025年の日米欧各極の NME 承認情報を用い、調査期間の最終年末時点における調査期間５年分の国内未承認薬数及び欧米 NME 数を集計した。加えて、欧米NME数に対する国内未承認薬数の割合を算出し、図11に示した。なお、米国と欧州の両極で承認されている NME の場合は最初に承認された年のみに１カウントし

図10　希少疾病用医薬品における優先審査区分導入前後の指定品目数



注：2024年の通知改正以前は、希少疾病用医薬品指定品目はすべて優先審査対象であり、該当・非該当の区分は設けられていなかったため、図中では「該当/非該当区分なし」と表記した。

出所：厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知「希少疾病用医薬品の指定について」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

た。また、ワクチンと再生医療等製品（EMA にて ATMP に該当する品目を含む。）に区分される品目は今回の調査対象から外した。

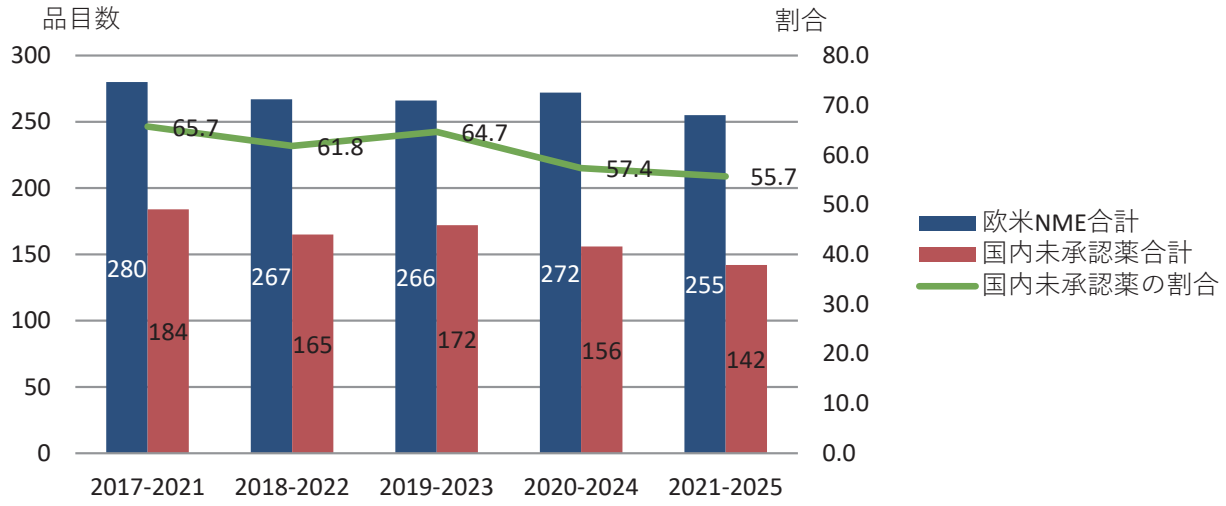
政策研ニュース No.63の結果では、国内未承認薬数・割合において、2020年５年移動合計で当該ニュースにおける調査期間の最高値を示していた。今回分析の結果、その後の経過は徐々に減少傾向が見られ、2025年５年移動合計で142品目55.7％であった。

②　国内未承認薬の開発状況

国内未承認薬の国内開発状況の内訳と開発情報ありの品目における開発ステージ別の割合を図12に示した。ただし、図11の調査は2025年までの承認情報からの結果であり、国内開発情報は2026年８月時点における調査結果であるため、その期間に開発フェーズが進捗した品目があることに留意が必要である。また、希少疾病用医薬品における国内開発状況の内訳を図13に示した。なお、ここで示す希少疾病用医薬品は FDA 又は EMA において希少疾病用医薬品として指定を受けている品目を抽出しており、国内での指定とは必ずしも整合しないことに留意が必要である。

2025年末の段階で日本において未承認である

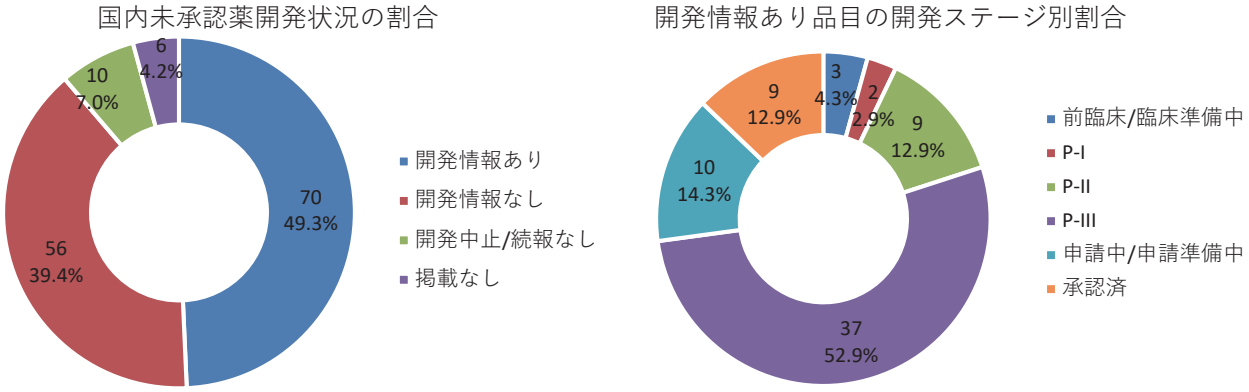
図11　国内未承認薬数・割合の推移（５年移動合計）



注：2017年から2025年に日米欧で承認された NME を対象とし、調査最終年末時点における調査期間（５年）の国内未承認薬数及び欧米 NME 数を調査し合計値を算出した。欧米両国で承認されている NME の場合は、最初に承認された年にのみ１カウントした。

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

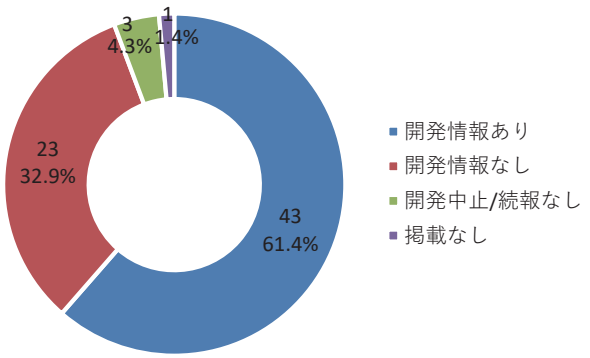
図12　国内未承認薬の開発状況と開発ステージ別の割合



注：明日の新薬に収載されていない品目を「掲載なし」とした。

出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（テクノミック制作）（2026年８月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図13　希少疾病用医薬品における国内未承認薬の開発状況の割合



注：FDA 又は EMA において希少疾病用医薬品としての指定を受けた品目を抽出した。明日の新薬に収載されていない品目を「掲載なし」とした。
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（テクノミック制作）（2026年８月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

142品目中には、厚生労働省における医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で既に検討されている品目24品目[11]が含まれていた。

2026年８月調査時点で開発情報（前臨床～承認済みを含む）がある品目は49.3%（70品目）、開発情報がない品目は39.4%（56品目）、開発中止/続報なしの品目は7.0%（10品目）、調査資料中に製品の掲載自体がない品目が4.2%（６品目）であった。開発情報ありの品目において、既に承認を取得した品目は12.9%（９品目）認められた。開発中の品目においては、P-III が52.9%（37品目）と最多で次いで申請中又は申請準備中が14.3%（10品目）であり、承認済みを含め開発後期段階の品目で８割を占めた。

希少疾病用医薬品に注目すると、開発情報がある品目は61.4%（43品目）となり、開発割合が高いことが示された。

４．まとめ・考察

本稿では、日本、米国及び欧州で2025年に承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について、それぞれの規制当局の公表情報を基に集計、比較調査した。また、希少疾病用医薬品並びに国内未承認品目の最近の動向について調査・分析を加えた。

(1)　新医薬品の承認品目数の日米欧比較

2025年の新医薬品の承認状況を見ると、日米欧の NME は43～46品目でほぼ同水準であった。一方で、全承認品目数については日本133品目、米国120品目、欧州189品目と欧州が日米を大きく上回り、調査期間中においても最高水準となった。NME が例年並みであるにもかかわらず全承認品目数が大幅に増加していることは、既存製品のライフサイクルマネジメントや医療アクセス向上を目的とした承認が活発であったことが示唆される。

欧州で全承認品目数が増加した背景のひとつとして、バイオシミラー承認の増加（2024年20品目⇒2025年45品目）が影響した可能性が考えられる。特に2025年は、一部の大型バイオ医薬品に対する複数のバイオシミラーが承認されており、特許切れに伴う市場参入の活発化が承認件数を押し上げた可能性がある。また、EMA は2025年３月にバイオシミラー開発における臨床アプローチの最適化に関するリフレクションペーパーのドラフトを公表（2026年３月正式採択）[12]し、構造的・機能的同等性が十分に示され、薬物動態の類似性が確認されればバイオシミラーの同等性評価は成立し得るとされ、従来求められてきた比較有効性試験は原則として不要とする方向性を示した。こうした規制合理化の動きがただちに承認件数増加に寄与したとは言い切れないが、今後のバイオシミラー開発促進を後押しする可能性が考えられる。

2025年に新規に承認された再生医療等製品数

11）厚生労働省　令和７年度未承認薬等迅速解消促進調査事業「ドラッグ・ロスの解消に向けた実態の把握及び情報の整理に関する調査事業」の整理結果（2026年４月６日）
12）European Medicines Agency（EMA）. Reflection paper on a tailored clinical approach in biosimilar development. 16 March 2026.
https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/reflection-paper-tailored-clinical-approach-biosimilar-development_en.pdf-0

は、米国で５品目、日本は２品目、欧州は３品目であり、日本では欧米先行開発品の承認が中心であった。2024年には条件及び期限付承認を受けた再生医療等製品において、通常承認への移行に至らず承認失効となる事例が認められたものの、2025年には条件及び期限付承認制度の運用に関するガイダンスや通知の整備が進められ、新たに１品目が同制度の適用を受けており、制度活用は継続して認められた。今後は、承認後の有効性評価に基づく通常承認への円滑な移行事例の蓄積が、本制度の実効性を評価する上で重要になると考えられる。

⑵　国内の承認品目内訳

日本国内の新医薬品承認品目の内訳において、2025年の承認品目数及び申請区分別構成は例年と大きな変化は認められなかった。

優先審査品目においては大半が希少疾病用医薬品であり、日本における希少疾病領域の医薬品開発支援策が引き続き承認実績に反映されていることが示唆された。一方で、条件付き承認制度は一部の活用にとどまり、先駆的医薬品指定制度対象品目及び特例承認制度による承認品目も認められなかったことから、革新的医薬品の早期実用化を目的としたこれらの制度の活用は限定的であり、その活用状況や制度運用の実態については引き続き注視する必要がある。

申請品目の製造販売業者はGlobal Majorを中心とする大手企業が主体であった一方、オリジネーターではBiotechnologyが最多であった。この結果は、革新的な創薬シーズの創出をバイオテクノロジー企業やアカデミアが担い、その後の開発・承認申請・商業化を大手製薬企業が担うという近年の医薬品開発エコシステムを反映している可能性がある。また、2025年の外資企業が申請した品目割合が約７割と増加し、日本で承認される新医薬品において外資企業の存在感がより一層高まっている。さらに、Specialtyの比率も高く、希少疾患や特定疾患領域に強みを持つ企業が新医薬品開発において一定の役割を担っていることがうかがわれた。

⑶　薬事制度活用状況と審査期間

日本における薬事上の特別措置の活用は、優先審査及び希少疾病用医薬品指定に集中していた。一方、米国ではPriority Review、Fast Track、Breakthrough Therapy、Accelerated Approval等複数の制度が重層的に活用され、欧州でもOrphan、PRIME、Conditional Approvalが一定数利用されていた。これらと比較すると、日本では革新的医薬品の開発・承認を支援する各種制度の活用実績は限定的であり、その背景については制度要件、企業の開発戦略及び開発品目の特性等を含めて検討する必要がある。

2025年の日本の審査期間は、引き続き中央値及び平均値のいずれにおいても日米欧の中で短い水準を示した。特にNME品目では中央値9.6か月、平均値10.0か月と、両者の乖離はわずかで、標準偏差も約2.1か月と小さいことから、NME品目の審査期間のばらつきは限定的であり、欧米に比較して日本では予見性の高い効果的な審査運用が継続していることが示唆された。

また、2025年に日本で承認されたNME品目について、日本先行又はほぼ同時承認品（14品目：平均値10.7か月）とそれ以外の品目（30品目：平均値9.7か月）との間で審査期間に統計的な有意差は認められず、日本先行開発が審査期間の長期化につながる傾向は確認されなかった。ただし、日本先行か否かは企業の開発・申請戦略に基づいて決定されるものであり、無作為に選択されたものではない。一般に、新規性が高い品目や開発上の不確実性が大きい品目については、企業が先行して米国等で申請する可能性も考えられるため、本分析では審査案件の難易度や新規性等の要因を調整していない点に留意が必要である。

薬事上の特別措置を受けた品目は、いずれの地域においても通常審査品目と比較して短い審査期間で承認される傾向が認められた。特に日本の優先審査品目では、審査期間が欧米の特別措置品目と同等の水準（約８か月）まで短縮されていることに加え、通常審査品目と優先審査品目との差は約３か月にとどまっていた。このことは、特別措置品目だけでなく通常審査品目も含めて全品目に

対して短い審査期間を維持していることを示しており、近年の日本の審査運用の特徴といえる。

⑷ 希少疾病用医薬品

日米欧の過去10年間のNMEに対する希少疾病用医薬品指定の推移において、日本では32.9%であるのに対し、米国では50.5%、欧州では36.6%と日本が３極の中で最も低い水準を示し、米国が継続的に高い割合であった。日本における希少疾病用医薬品の指定は、患者数（５万人未満）基準に加え、高い医療上の必要性及び開発可能性を求める点が特徴である[10]。また、米国は主として患者数（20万人未満）又は採算性を基準としており[13]、欧州は患者数（有病率５/10,000以下）に加えて重篤性及び既存治療に対する有意な有益性を求めている[14]。このように日米欧では希少疾病用医薬品の指定要件に相違があることから、指定割合の差異には制度上の基準の違いが影響していた可能性がある。一方、日本では2025年の希少疾病用医薬品指定割合が47.7%まで上昇しており、これは３.結果の⑷③に示した2024年の通知改正による影響が反映されたものと考えられる。

2024年の通知改正では、希少疾病用医薬品指定において新たに優先審査の該当・非該当の区分が導入された。2025年の日本の承認実績において希少疾病用医薬品の承認品目数は43品目（全承認品目中32.3%）と増加が認められた一方で、そのうち10品目（全希少疾病用医薬品中23.3%）は優先審査が非該当であった。優先審査該当品目と非該当品目における審査期間平均値の差は2.8か月（95%信頼区間2.2-3.4か月）であり、優先審査該当品目の審査期間は有意に短かった（Welchのt検定、$p<0.001$）。また、2024年１月の通知改正以降に新たに希少疾病用医薬品に指定された品目数は2024年65品目、2025年98品目と大幅な増加傾向を示した。一方で、優先審査該当品目数及び該当割合はそれぞれ35品目53.8%、34品目34.7%と、品目数としては例年と同水準で推移したが、通知改正前は100%であった優先審査該当の割合は大幅に減少した。

通知改正後は指定の対象範囲が拡大した一方で、優先審査の適用範囲は従来の要件に限定されたことにより、希少疾病用医薬品として指定されても優先審査の対象とならない品目が生じている。現時点では制度改正後の観察期間が限られているため影響に対する明確な判断は難しいものの、希少疾病用医薬品における優先審査対象の減少は、承認までの期間や患者への医薬品アクセスの迅速化に影響を及ぼす可能性がある。指定時点で非該当となった品目においては、開発の進展に応じた再評価の仕組みが用意されているものの、本制度の活用状況を含め今後の動向に注視する必要がある。

⑸ 国内未承認薬

今回の調査手法である５年移動合計において、国内未承認薬数及び未承認割合は2020年をピークとして減少傾向を示した。また、最新の調査期間（2021～2025年）における国内未承認品目では、2026年8月調査時点において約半数で国内開発情報が確認され、「ドラッグ・ロス」（本稿では欧米で承認されているにもかかわらず国内で未承認かつ開発情報が確認できず、国内でのアクセス確保の見通しが確認できない状態として定義）に該当する可能性のある品目は減少傾向にあることが示唆された。「開発情報あり」は前臨床段階から承認取得済みの段階までが含まれているが、多くは後期開発段階に位置しており、国内導入に向けた開発が進展していることが示された。この結果は、近年のPMDAによる相談・審査体制強化、希少疾病用医薬品や小児用医薬品に対する開発支援を含む多面的なドラッグ・ラグ／ロス対策[15]、さら

13）Food and Drug Administration（FDA）. Drug Development for Very Rare Diseases.（2026年９月時点）https://www.fda.gov/industry/fdas-rare-disease-day/drug-development-very-rare-diseases
14）European Medicines Agency（EMA）. Orphan designation: Overview.（2026年９月時点）https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation-overview
15）厚生労働省「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」（2024年４月24日）https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf

に未承認薬･適応外薬検討会議を通じた開発要請･公募[11、16]等が一定の成果を上げている可能性を示唆している。

これまでの施策の効果が認められる一方で、開発情報が確認できない品目も依然として存在しており、引き続きドラッグ・ロスの解消に加え、日本をグローバル開発に早期から組み込む構造への転換、開発環境整備を推進することが重要と考えられる。

5．おわりに

本稿では、2025年の日本、米国、欧州の３極における新医薬品の承認動向を比較するとともに、希少疾病用医薬品をめぐる優先審査の該当性の変化や、国内未承認品目の最近の状況について整理した。これらの結果から、日本の新医薬品開発・承認を取り巻く環境に新たな変化が認められつつあることが示唆された。

近年、日本では薬事制度改革や治験環境の整備だけでなく、医薬品市場そのものの魅力度向上に向けた議論が進展している。2022年度薬価制度改革では、新薬のイノベーション評価を強化する観点から各種加算措置の見直しが行われた。その後もドラッグ・ロス問題や創薬エコシステム強化の必要性を背景として、日本市場の予見可能性や成長性の向上が継続的な課題として認識されている。さらに、近年は米国における最恵国（MFN：Most Favored Nation）価格政策をはじめとする国際的な医薬品政策の変化も踏まえ、グローバルな研究開発投資や開発拠点を巡る国際競争への関心が高まっている。このような中、政府は創薬を我が国の成長戦略を支える重要な産業分野の一つとして位置付け、創薬エコシステムの強化、市場環境の改善、革新的医薬品への投資促進に向けた取り組みを進めている。これらの動きは、単なるドラッグ・ラグ／ロス対策にとどまらず、日本をグローバルな創薬・開発の有力な拠点として発展させることを目指すものである。今後、政府が創薬力強化を国家戦略として位置付けて示した政策目標や工程表の下で、産学官の連携やオープンイノベーションの取り組みが一層進展することにより、日本市場の魅力度向上と患者アクセス改善の両立が図られることを期待したい。

16）厚生労働省　令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」研究班の整理結果（2025年３月31日）
https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001462594.pdf

補足１：希少疾病用医薬品指定制度の主な改正ポイント

項目	改正後	ポイント
１　指定の基準 ⑴　対象患者数 ウ　指定対象となる疾患の範囲	特定の疾患の患者数に関して、医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤な」等の接頭語、ただし書き等を追加することによって、患者数を５万人未満として計算するいわゆる「輪切り」申請については、原則として認めない。 一方、例えば、年齢層（小児を含む）、治療体系、治療ライン、リスク 分類、投薬の必要性等を含め、医学薬学上の適切な根拠に基づき、高いアンメットニーズがありつつも開発が進んでいない範囲に限定した対象疾患に対して製造販売をしようとするのであれば、当該疾患については「輪切り」には該当しない。ただし、疾患全体の患者数が５万人を大幅に超える場合は、患者数は複数の根拠に基づき慎重に確認するものとする。	・医学薬学上の適切な根拠、高いアンメットニーズ、当該集団で開発が進んでいない等の事由は患者数の「輪切り」に該当しない判断となった
⑵　医療上の必要性 イ　対象疾患に対する有用性	②　既承認薬等がある場合であって、いずれの既承認薬による治療を行った場合でも予後不良等、当該既承認薬等のみでは治療法・予防法として十分ではなく複数の選択肢が臨床的に必要とされていること（医療環境・投与環境から既承認薬の投与が困難である患者が一定数存在すると考えられる場合を含む。）。	・著しく高い有効性または安全性が期待される場合でなくても、臨床的な必要性による指定の対象が可能となった
⑶　開発の可能性	国内での開発を行うことのできる体制及び計画を有していること。具体的には、承認申請に至るまでに実施する予定の臨床試験の概観が明らかとなっていること。また、少なくとも初めて人に投与する臨床試験を実施するために必要な非臨床試験については概ね完了していること。	・非臨床段階から指定できることが明記された
８　優先審査及び優先相談の取扱い	希少疾病用医薬品のうち、優先審査及び優先相談の対象となるのは、当面の間、従前の希少疾病用医薬品の指定の基準を満たすものに限るものとする。このため、当該要件に該当することを積極的に示す根拠がないものについては、希少疾病用医薬品としての優先審査及び優先相談の対象とはならない。（中略）指定の段階で優先審査及び優先相談には該当しないとされた希少疾病用医薬品であって、開発の進展とともに優先審査及び優先相談に該当すると考えられる品目については、独立行政法人医薬品医療機器 総合機構（PMDA）の相談（原則として、申請前に申請資料のまとめ方等について行う相談の際に行う。）を活用することにより、該当性を明らかにすることで、優先審査及び優先相談の適用を受けることができる。	・優先審査及び優先相談該当の条件が追加された ・開発の進展による該当性の再評価が明記された

出所：厚生労働省「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について（令和６年１月16日医薬薬審発0116第１号、医薬機審発0116第１号）を基に医薬産業政策研究所にて作成