

- 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.76 要約

- 要約（日本語） … 2 ページ

- 要約（英語） … 6 ページ

- Office of Pharmaceutical Industry Research

OPIR Views and Action No.76

- Summary (Japanese) … page 2

- Summary (English) … page 6

目で見る製薬産業

日米欧の新薬承認状況の比較（2024 年）

- ・ 2024 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について調査した。
- ・ 2024 年の国内の全承認品目数は 153 品目、NME 数が 63 品目であった。米国では全承認品目数が 107 品目、NME 数が 49 品目であった。欧州では全承認品目数が 161 品目、NME 数が 37 品目であった。
- ・ 日本で承認された NME63 品目中、優先審査（希少疾病用医薬品を含む）は 20 品目、希少疾病用医薬品は 18 品目、迅速審査（優先審査を除く）3 品目と 2023 年と比較して増加に転じた。
- ・ 日本の審査期間の中央値は全承認品目で 9.9 か月、NME で 10.0 か月であり、欧米と比較して最小であった。
- ・ 2024 年に新規に承認された再生医療等製品の数日本 1 品目、米国 10 品目、欧州 2 品目であり米国の承認数が突出していた。

米国開発パイプライン数に見る日本の創薬研究の現在位置

- ・ 本稿では、Citeline 社のデータベース（Pharmaprojects®）を用いて、オリジネーター企業の本社国籍別に開発パイプライン数を調査した。
- ・ 日本国籍企業由来の開発パイプライン数は、米国、中国に次いで 3 番目に多かった。
- ・ 中国国籍企業由来品が米国について多く中国の創薬の活発化が見てとれた。その 8 割以上は中国のみで開発されているものであったが、米国での開発に至ったパイプライン数としても中国は米国に次ぐ 2 位であった。
- ・ 日本由来の開発パイプラインでは低分子が 6 割超を占めていた。
- ・ 日本由来の開発パイプラインでは、抗がん剤、神経疾患の順に多く、神経疾患の占める割合は他国に比べて多かった。
- ・ 新規メカニズムを志向したパイプラインも他国同様の割合で生じており、神経疾患に関する開発パイプライン数では米国に次いで多かった。

前臨床段階への提携・買収実態調査 ―日本と他国の比較―

- ・ 2010 年 1 月～2025 年 3 月に世界各国の企業、組織が行った前臨床段階にある候補物質への取引・提携・買収（以下、前臨床提携・買収）の実態を調査した。
- ・ Evaluate 社 Evaluate Pharma®（2025 年 3 月時点）を用いて抽出した、世界各国が行った前臨床提携・買収数は 1,202 件であった。そのうち日本は 77 件、シェア 6 %で 3 番目に多く、日本の前臨床提携・買収数は世界の中でも高い水準であった。
- ・ オリジネーターを見ると、米国が実施した前臨床提携・買収のうち、アカデミアの割合は 24 %であり日本の 10 %と比べ約 2.5 倍高かった。ただし、各国ともアカデミアへの前臨床提携・買収は近年減少しており、日本の前臨床提携・買収は 2018 年以降 EBP に特化し、アカデミアに対してはほぼ無かった。
- ・ モダリティを見ると、各国ともに Small molecules chemistry に対する前臨床提携・買収の割合は最も高かった（40～44 %）。また、日本の Gene therapy、Cell therapy の割合はそれぞれ 9 %、8 %であり米国の 6 %、3 %、その他 6 か国合計の 1 %、2 %と比べ割合が高かった。
- ・ 薬効分類を見ると、日本が実施した前臨床提携・買収は Central Nervous System（以下、CNS）への割合が 22 %で最も高く、他国の約 15 %と比べても高値だった。一方で、Oncology の割合は 21 %で日本国内では 2 番目に多いが、他国の 40 %以上と比べると低かった。これらの傾向は日本の特徴と言える。

開発品を有する国内新興医薬品企業（EBP）に関する調査

- ・ 2025 年 2 月時点で臨床入りした開発品目を有する国内新興医薬品企業（Emerging Biopharma, EBP）について、その成り立ち、資金調達、現状、パイプラインを調査し、その特徴について解析した。
- ・ 国内 EBP 特徴
 - 創業者は、アカデミア単独が圧倒的に多く、その他のカテゴリー（製薬出身、起業家など）との協業による創業は低調であった。
 - EBP への資金提供元は、国内 VC・CVC と同じくらいに個人による出資が多かった。
 - 資金は、国内からが圧倒的に多く、国外からの流入は少なかった。また国外では米韓に偏っていた。
- ・ 国内 EBP パイプライン
 - 一企業当たりの品目数は、バイオ品よりも低分子品の方が、また、製薬関連出身者または複数カテゴリー出身者が創業者に含まれる企業の方が、多かった。
 - 領域は、オンコロジーについて、中枢神経、感覚神経が続いた。モダリティでは、低分子が半数以上を占め、その次は細胞治療であった。
 - 低分子品は、製薬出身者が含まれる企業の品目が半数以上を占めたが、アカデミア出身者が含まれる企業も 4 割程度は存在した。一方バイオ品は、3/4 程度がアカデミア出身者が含まれる企業の品目であった。

CDMO 利用環境に関する日本の状況

- ・ 本稿では、Evaluate 社のデータベース（CDMO Intelligence[®]）を用いて、主要な創薬国に事業所を置く CDMO 企業数を調査した。
- ・ 自国内に事業所を置く CDMO 企業数は、米国、ドイツ、中国、フランス、イギリス、日本、スイス、韓国の順となり、日本国内に事業所を置く CDMO 企業数は他の主要創薬国より少なく、特に外資 CDMO 企業数が他国より少なかった。
- ・ 前臨床段階、臨床段階の CMC 業務受託サービスを提示する CDMO 企業数についても同様であり、日本は他国より少なく、特に抗体や ADC の受託可能企業数が少なかった。

Points of View

システマティックレビューからみた Patient-Reported Outcome Measure (PROM) 介入による利点と課題

- ・ 2020 年以降で文献検索して得られた Patient-Reported Outcome Measure (PROM) 介入臨床研究のシステマティックレビュー、メタアナリシス 5 論文の概要について述べ、日常診療や臨床研究に PROM を実装する利点と課題について紹介する。
- ・ 疾患横断的に PROM 介入効果を評価した臨床研究レビュー 2 編のうち、質的評価研究に限定したレビューでは、PROM 介入に 5 つのキーベネフィットが示された。PROM を機能別に評価した研究レビューでは、PROM は症状スクリーニング、モニタリングに有用とし、疾患特異的 PROM でアウトカムの改善率が良好とされた。
- ・ がん患者の PROM 介入臨床研究レビュー 2 編のうち、種々のアウトカムを評価した研究レビューでは、アウトカムの改善には PROM データの患者、医療者へのフィードバックが有用であることが示唆された。死亡、QOL 等の健康関連イベントを前向きに検証した PROM 介入研究のメタアナリシスでは、PROM 介入は死亡と 12 週目 QOL に有意な改善効果が認められた。
- ・ これらの臨床研究レビューでは、診療に PROM を介入する意義が論じられているが、同時に PROM 収集に対する患者、医療者の懐疑的意見、双方にかかる負荷、潜在的バイアス、データの信頼性等、日常診療への PROM の実装には多くの課題があり、介入効果に限界があることも示された。
- ・ こうした課題が指摘されているが、近年、国内でも PROM 介入臨床研究が進んでおり、また AI による患者の声の構造化技術も診療現場に一部導入され、PROM を診療に実装する意義への認識は高まっている。患者アウトカムの改善と医療技術開発の要素として「患者の声」を収集する価値が社会に理解されるためには、種々の課題解決に向けて産官学が議論、研究を重ね、協力して政策に反映させていくことが重要と考える。

補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移

—2024 年度薬価制度改革前後の動向（2025 年 8 月までの調査）—

- ・ 本稿では、公開情報である中医協資料等をもとに、補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移を調査し、2024 年度薬価制度改革前後で傾向を比較した。政策研ニュース No.73 では 2024 年度途中の収載 3 回分のデータを分析したが、2024 年度の収載が出そろった（計 5 回）こと、また、2025 年度の収載も一部行われたことから、再度分析を試みた。
- ・ No.73 からの更新として、2024 年度には追加で 23 品目が収載され、2025 年度は現時点までに 16 品目の新有効成分含有医薬品が収載された。
- ・ 2024 年度薬価制度改革で充実が図られた各種加算制度の影響については、有用性系加算、市場性加算／小児加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）に該当した割合は、制度改革前後で比較すると改革後で高い傾向が見られたことは前回調査と同様であった。
- ・ 一方、2024 年度については No.73 で報告した年度途中の解析に比べて年間では該当割合の減少傾向が見られた。今回の調査で 2025 年度の各種補正加算への該当割合は、8 月時点では高めの数値で推移していたが、2024 年度の状況を踏まえると、1 年を通した傾向については今後の動向を注視する必要がある。
- ・ 2024 年度薬価制度改革で新設もしくは充実が図られた要件等に該当する品目は着実に増加してきており、有用性系加算で新設された項目については、すべての項目の該当事例がでそろった。

Pharmaceutical Industry at a Glance

Comparison of New Drug Approval Status in Japan, the U.S., and Europe (2024)

- This study investigated the number of new drug approvals, special regulatory designations, and review periods for new drugs approved in Japan, the United States, and Europe in 2024.
- In 2024, 153 products were approved in Japan, including 63 new molecular entities (NMEs). In the United States, 107 products (49 NMEs) were approved, while 161 products (37 NMEs) were approved in Europe.
- Among the 63 NMEs approved in Japan, 20 were designated for priority review (including orphan drugs), 18 were orphan drugs, and three underwent accelerated review (excluding priority review). These numbers represent an increase compared with 2023.
- The median review period in Japan was 9.9 months for all approved products and 10.0 months for NMEs, representing the shortest duration among Japan, the U.S., and Europe.
- In 2024, the number of newly approved regenerative medical products was one in Japan, 10 in the United States, and two in Europe, indicating a notably higher number of approvals in the United States.

Current Position of Japanese Drug Discovery Research in View of the Number of Drug Pipelines Developed in the U.S.

- This study investigated the number of drug pipelines by originator nationality using Pharmaprojects® by Citeline.
- The number of developmental-phase pipelines originating from Japanese companies ranked third, following those from the U.S. and China.
- China-based companies ranked second to the U.S. in terms of the number of pipelines, indicating highly active drug discovery in China. Nevertheless, over 80% of China-origin pipelines were developed solely in China; however, China also ranked second in the number of pipelines developed in the U.S.
- Over 60% of Japanese drug pipelines in the developmental phase are small molecules.
- Among Japanese drug pipelines, anticancer drugs were the most common, followed by those for neurological disorders, with a higher proportion compared with that of other countries.
- Among Japanese-origin pipelines, a proportion comparable to that of other countries targeted novel mechanisms; in particular, the number of such pipelines for neurological disorders in Japan ranked second only to the U.S.

Survey on Partnerships and Acquisitions in the Preclinical Stage: Comparisons Between Japan and Other Countries

- We investigated the actual state of transactions, partnerships, and acquisitions involving preclinical candidate substances (hereafter referred to as preclinical partnerships and

acquisitions) conducted by companies and organizations worldwide from January 2010 to March 2025.

- Using Evaluate Pharma® (as of March 2025), we identified 1,202 preclinical partnerships and acquisitions conducted worldwide. Japan accounted for 77 of these, representing a 6% share and ranking third globally. Thus, the number of preclinical partnerships and acquisitions in Japan is among the highest worldwide.
- Regarding originators, the proportion of academic institutions among preclinical partnerships and acquisitions conducted in the United States was 24%, approximately 2.5 times higher than that of Japan (10%). However, in recent years, preclinical partnerships and acquisitions with academia have declined across all countries. Since 2018, Japan's preclinical partnerships and acquisitions have focused almost exclusively on emerging biopharma (EBP) companies, with virtually no involvement of academia.
- Preclinical partnerships and acquisitions for small-molecule chemistry were the most common modality across all countries (40–44%). Furthermore, Japan's proportions for gene therapy and cell therapy were 9% and 8%, respectively, higher than those of the U.S. (6% and 3%) and six other countries (1% and 2%).
- Regarding therapeutic areas, Japan's preclinical partnerships and acquisitions showed the highest proportion in the central nervous system at 22%, which was significantly higher than the approximately 15% observed in other countries. Oncology accounted for 21%, the second-highest proportion within Japan, but lower than the over 40% observed elsewhere. These trends highlight the distinctive characteristics of Japan's preclinical partnership landscape.

Survey on Emerging Biopharma Companies (EBPs) with Developmental Products in Japan

- We investigated EBPs in Japan that had developed products in clinical trials as of February 2025 by analyzing their origin, funding sources, current status, pipelines, and key characteristics.
- Characteristics of EBPs in Japan
 - The majority of founders came solely from academia, with few collaborations involving other backgrounds (including the pharmaceutical industry, entrepreneurs, or both).
 - Funding sources were roughly equally divided between individual investors and domestic venture capitals/corporate venture capitals.
 - Most funding originated in Japan, with limited foreign investment. Among foreign investors, contributions were concentrated in the U.S. and South Korea.
- EBP Pipeline in Japan
 - The number of products produced per company was higher for small molecules than for biologics. Companies with founders from pharmaceutical backgrounds or multiple sectors also produced more products.
 - Therapeutic areas included oncology and disorders of the central nervous and sensory systems. Small molecules accounted for more than half of all molecules, followed by cell therapy.
- For small-molecule products, founders with pharmaceutical industry backgrounds accounted for over half of the products, while founders with academic backgrounds accounted for

approximately 40%. Conversely, for biologics, approximately three-fourths of the products originated from companies whose founders had academic backgrounds.

Observation of CDMO Utilization Environment in the Japanese Pharmaceutical Industry

- This study investigated the number of CDMOs that have established facilities in major drug-developing countries, using CDMO Intelligence® by Evaluate Pharma.
- The number of CDMOs in major drug-developing countries was ranked as follows: the United States, Germany, China, France, the United Kingdom, Japan, Switzerland, and South Korea. Japan had fewer CDMO companies than those of other major drug-developing nations, and fewer foreign CDMO companies have entered the Japanese market.
- The number of CDMO companies offering preclinical and clinical CMC contract services was also low in Japan, with even fewer specializing in the manufacturing of antibodies and ADCs.

Points of View

Benefits and Challenges of Patient-Reported Outcome Measure (PROM) Interventions: Insights from Systematic Reviews

- This study provides an overview of five systematic reviews and meta-analyses of clinical studies on PROM interventions published in 2020. It summarizes the reported benefits and challenges associated with implementing PROMs in routine clinical care and research.
- Among the two reviews evaluating the effects of PROM interventions across multiple diseases, one focused on qualitative studies and identified five key benefits of PROM use. Another review, assessing PROMs by functional category, concluded that PROMs are useful for symptom screening and monitoring, and disease-specific PROMs are associated with high rates of outcome improvement.
- Of the two reviews examining PROM interventions in patients with cancer, the review evaluating various outcomes suggested that providing feedback on PROM data to both patients and clinicians may help improve outcomes. A meta-analysis that prospectively assessed health-related outcomes, including mortality and quality of life, found significant improvements in mortality and 12-week quality of life with PROM intervention.
- While these reviews emphasize the importance of integrating PROMs into clinical practice, they also highlight several challenges, such as skepticism toward PROM collection among patients and clinicians, increased workload for both parties, potential biases, and data reliability concerns. These issues indicate that the effectiveness of PROM interventions may be limited in real-world settings.
- Despite these challenges, PROM-based clinical research has advanced in Japan in recent years. Moreover, AI technologies for structuring patient-reported data have begun to be introduced into clinical practice, contributing to greater recognition of the value of PROM implementation. To enhance societal understanding of the importance of capturing the “patient voice” as a foundation for improving outcomes and developing medical technologies, it is essential for industry, government, and academia to collaborate, engage in continuous discussion and

research, and translate these efforts into health policy.

Trends in the Pricing Assessment of New Medicines, with a Focus on Premiums

– Trends Before and After the FY2024 NHI Drug Pricing System Reform: Based on a Survey up to August 2025 –

- This study investigated trends in the pricing of new medicines, with a focus on premiums, based on publicly available information, such as materials from the Central Social Insurance Medical Council. It compared trends before and after the 2024 drug pricing system reform. OPIR Views and Actions No. 73 analyzed data from the first three listings in FY2024. With all FY2024 listings now complete (five in total) and some FY2025 listings finalized, we conducted an updated analysis.
- Since No. 73, an additional 23 new active-substance medicines have been listed in FY2024, and another 16 have been listed as of August 2025.
- Regarding the impact of the various premium systems enhanced by the 2024 drug pricing system reform, the proportion of medicines qualifying for the innovativeness/usefulness premium, marketability premium, pediatric premium, and price maintenance premium was higher after the reform than before, consistent with the previous survey.
- However, in FY2024, compared to the midyear analysis reported in No. 73, the proportion of medicines qualifying for these premiums showed a declining trend over the entire year. In this survey, the proportion qualifying for various premiums in FY2025 remained relatively high as of August. Nevertheless, considering the FY2024 trend, future full-year trends should be closely monitored.
- The number of items meeting the newly established or enhanced requirements introduced under the 2024 drug pricing system reform steadily increased. Regarding the newly established requirements under the innovativeness/usefulness premium, cases satisfying each individual criterion were observed.