

# 製薬協 政策提言 2021

2021年2月

日本製薬工業協会

2020年初頭より世界を席卷した新型コロナウイルス感染症は従来の生活様式に大きな変化をもたらした。今なお収束の兆しが見えない中で、世界中の様々な叡智を結集した感染症対策が日々続けられている。

今般のパンデミックの収束の鍵は安全で有効なワクチン・治療薬の創製にあり、私たち製薬企業はワクチン・治療薬の実用化という喫緊の課題に全力で取り組むと同時に、がんなど未だ克服できない様々な疾患に対する挑戦を続けている。現在、過去に無い程、国民の命と健康を守る創薬イノベーションへの期待は高まっており、製薬産業はその使命を果たさなければならない。

一方、日本国内では、団塊の世代が75歳以上となる2025年には大幅な社会保障費の増大による医療財政の悪化及び患者や国民の健康・医療に対するニーズの多様化などにどのように対応すべきか、その方向性を明確にしていかなければならない。私たち製薬企業は、創薬イノベーションにより国民の健康寿命の延伸に貢献するとともに、患者本人の生産性損失の改善及び患者家族の負担軽減による社会復帰等を通じて社会の支え手を増やし、多様な生き方や働き方の促進に貢献していく。去る2019年1月に日本製薬工業協会（以下、製薬協）は、いま製薬業界に何が求められ、社会に対して何を発信していくべきか、また創薬イノベーションをさらに促進するためには何が必要かを整理し、まとめたものを「製薬協 政策提言 2019」として発表し、関係各位の協力を得ながらその実現に取り組んで来た。この度、その後の社会環境変化に加え、新医薬品の創出及び評価に関する国民の正しい理解を得るために「製薬協 政策提言 2021」として新たに取りまとめた。今後も我が国が米国に次ぐ新薬創出国として、パンデミックへの対応も含めて世界最先端の医薬品を日本で創出・開発し、国民に迅速に届けるためには、「イノベーションの創出」と「イノベーションの適切な評価」を車の両輪として強力に推進することが不可欠である。

この提言を元に各方面のステークホルダーと活発に意見交換し、我々産業界の一層の理解と活動の強化につなげ、魅力的で国際競争力の高いイノベーション創出環境の更なる整備を目指す。我々製薬産業は、人生100年時代における健康長寿社会の実現に向け、病に苦しむ患者に革新的な医薬品・医療技術を一刻も早く届けられるよう、不断の努力を続けていく。

以上

## 目次

エグゼクティブサマリー .....	4
I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備 .....	4
II イノベーションの推進と国民皆保険の持続性との両立を求めて .....	6
I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備 .....	8
1 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための基盤整備 .....	8
1.1 デジタルトランスフォーメーション (DX) による医療と創薬研究開発の高度化.....	8
1.1.1 デジタルトランスフォーメーション (DX) の推進 .....	8
1.1.2 全ゲノム解析等実行計画の加速推進 .....	10
1.1.3 個人情報保護制度の整備 .....	11
1.2 薬事、知的財産関連施策等の推進 .....	12
1.3 研究開発税制の強化 .....	15
2 産学官連携で推進する最先端の研究や技術の高度化 .....	15
2.1 コホート研究・バイオバンクの利活用の推進 .....	16
2.1.1 前向きゲノムコホート研究の推進 .....	16
2.1.2 認知症の発症過程の解析と先制医療実現の推進 .....	17
2.1.3 疾患別情報統合データベースの構築 .....	17
2.2 創薬研究の環境整備と創薬基盤技術の高度化 .....	18
2.2.1 最先端大型研究施設・設備の整備と利活用の推進 .....	18
2.2.2 新たなモダリティに対応した創薬基盤技術の高度化 .....	20
2.2.3 研究開発の発展に資する高機能 AI の開発と利活用の推進 .....	21
II イノベーションの推進と国民皆保険の持続性との両立を求めて .....	22
1 医薬品の適正使用の推進 .....	22
1.1 情報提供活動の適正化 .....	22
1.2 薬剤耐性 (AMR) 問題への取組み.....	22
1.2.1 医療従事者への啓発活動 .....	22
1.2.2 一般人への AMR に対する意識調査の実施.....	22
1.2.3 一般人 (若年層) への啓発活動 .....	23
1.3 革新的医薬品の最適使用の推進 .....	23
1.4 ポリファーマシー等への対応 .....	23
1.4.1 国民・患者への普及啓発 .....	23
1.4.2 医療現場における多職種連携 .....	24
1.4.3 保険者の取組み .....	24

2	全世代型社会保障制度改革	24
2.1	医療提供体制	24
2.2	負担の見直し	25
2.3	給付の重点化・効率化	25
2.3.1	保険給付の考え方	25
2.3.2	予防・先制医療	26
2.3.3	デジタル医療（デジタルセラピューティクス：DTx）	26
2.3.4	上手な医療のかかり方	26
2.4	「支える側」と「支えられる側」のバランス	26
3	イノベーションの評価	27
3.1	医薬品市場を取り巻く環境	27
3.1.1	国民医療費の増大	27
3.1.2	新型コロナウイルス感染症の拡大による経済・財政の悪化	27
3.1.3	中間年薬価改定（2021年度）の影響	27
3.2	新薬の評価体系の見直し	28
3.2.1	医薬品の多様な価値の評価	28
3.2.2	類似薬選定の基準見直し	28
3.2.3	薬価収載後のイノベーション評価	28
3.3	新薬の評価プロセスの改善	28
3.4	我が国の医薬品市場とイノベーションへのアクセス	29

## エグゼクティブサマリー

### I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備

製薬業界が人々の健康寿命の延伸に貢献するためには、製薬企業が従来取り組んできた疾患治療のための医薬品の創出にとどまらず、予防・先制医療の実現をも見据えた研究開発に取り組む必要がある。そのためには、健康医療ビッグデータやAI、ゲノム解析といった革新的なエマージングテクノロジーを取り入れた先端的な研究開発を、産学官の広範なステークホルダーにより構築され海外とも連携したヘルスケアエコシステムにおいて取り組むことが重要である。その成果から生まれるイノベーションにより、国民の健康寿命の延伸が実現し、社会保障費の軽減及び労働人口の増加に繋がり、ひいては財政の改善とともに経済成長を可能にし、最終的に次のイノベーションが産み出されサイエンスが発展するという好循環が生まれると期待される。

製薬協では、2016年に「製薬協 産業ビジョン2025」を策定し、創薬イノベーションを世界中の人々に届けるという将来像を描き、それを実現するための方向性を示してきた。その実現に向け、2019年には「製薬協 政策提言2019」及び『次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案』を策定し、製薬業界として、これまでの個社ベースでの取組みを超えた積極的な協業を推進し、且つ政府やアカデミアと協力して、医薬・医療イノベーションを継続的に創出するための方策を示した。この提言では「予防・先制医療の実現」、「健康医療ビッグデータ及びAIの開発・活用」、「ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築」の3つの課題を柱として掲げ、その実現に向けた活動を政府やアカデミアとともに現在まで推進しているところである。

これまでの成果として、一般社団法人未承認薬等開発支援センターを「新薬・未承認薬等研究開発支援センター」に改組し、業界主導で共同研究を継続的に提案・採択・運営し、さらにデータベース・アセット・知的財産権等を管理するヘルスケアイノベーション創出エコシステムの中核となるプラットフォームを構築した。また、東北メディカル・メガバンク機構（ToMMo）と製薬協は、2020年1月に連携協定、同年3月に共同研究契約を締結し、生活習慣に関する調査票データやMRI画像データ、オミックス情報等の関連性を調査する等の共同研究を通して、次世代医療の社会実装及び革新的な医薬品・医療技術の更なる創出を推進している。他にも、多層的オミックス解析による創薬と最適医療への研究、新たなモダリティ研究、AIの創薬への活用、アルツハイマー病（AD）発症過程の解析と予防的介入試験の実施、健康医療ビッグデータの臨床開発への応用、クライオ電子顕微鏡の導入及び技術向上等のプロジェクトをアカデミアや政府・関係機関と連携して推進している。さらには、経済財政運営と改革の基本方針2019（骨太方針2019）、同2020、第2期健康・医療戦略等に製薬協の提言を数多く取り入れていただき、日本医療研究開発機構（AMED）には基金を設置していただく等、政府との連携も一段と深まっている。

他方で、「製薬協 政策提言2019」を策定してからの2年間にも様々な環境変化があった。特に世界に大きな衝撃と影響を与えたのが、新型コロナウイルス感染症のパンデミックである。多くの製薬企業がこの危機に対応すべく、治療薬やワクチンの研究開発を急ぐとともに医薬品の安定供給に努めているが、製薬協としても、迅速に治療薬・ワクチンを創出し安定的に供給するための施策等を示した「感染症治療薬・ワクチンの創生に向けた製薬協提言－新型コロナウイルス感染症発生を契機として－」を2020年6月に取りまとめたところである。また、新型コロナウイルス感染症を契機として、デジタルトランスフォーメーション（DX）が様々な分野で加速している。

政府は、我が国のデジタル化の司令塔を担う「デジタル庁」の2021年9月設置を含むデジタル社会の実現に向けた改革の基本方針をとりまとめた。臨床現場においては、通院負担の軽減及び院内感染回避等のためのオンライン診療の利用が増加し、また、治療用アプリが薬事承認されるなど、デジタルセラピューティクスの研究開発が進展している。さらには、政府は骨太方針2019に基づき、がんと難病領域における全ゲノム情報等を産学官で利活用する基盤を構築するための取組みとして「全ゲノム解析等実行計画」を2019年に取りまとめ、具体的検討・議論が進んでいる。一方、他の先進国に比べ健康医療情報の利活用基盤の構築が劣後しており、その整備が急務である。

今般、製薬協ではこれらの背景を踏まえ、あらためて「製薬協 政策提言2021」を取りまとめた。「テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備」の概要は次の通りである。

## 1 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための基盤整備

■ デジタルトランスフォーメーション（DX）による医療と創薬研究開発の高度化  
パーソナルヘルスレコード（PHR）、医療データ、健診・検診データ、介護データを含む健康医療データの「基盤構築」と「利活用」を推進する。

■ 全ゲノム解析等実行計画の加速推進

他国の取組みを凌駕する基盤を迅速に構築する。先行解析は最小限度の計画とした上で迅速に実施し、現行の実行計画の前倒しも視野に速やかに本格解析を開始する。また、ゲノム解析関連事業を戦略的に推進する計画を立案し、事業運営の責任を持つ、国の推進体制を速やかに整備する。

■ 個人情報保護制度の整備

個人情報保護法の令和2年改正法の施行においては、域外移転に関して事業者の新たな負担とならないものとする。また、仮名化データの利活用を可能とする環境整備、個人情報保護法制の2000個問題の解消、ゲノム情報の利活用拡大を踏まえた ELSI（Ethical, Legal and Social Issues）人材の育成と国民の安心・安全のための速やかな環境整備等を行う。

■ 薬事、知的財産関連施策等の推進

国内薬事関連施策、国際規制調和と日本の薬事承認の国際標準化、研究開発投資を促進する適切な市場独占期間の確保及び知的財産権に基づく税制措置、国際的な知的財産権保護、投資制限撤廃、製造販売後安全対策の更なる充実等を推進する。

■ 研究開発税制の強化

研究開発税制を、①イノベーションの推進、②研究開発投資を高水準で持続的に実施している企業の評価、③研究開発投資に見合った減税が得られる、④長期安定的で予見可能性の高い制度といった目的に沿った制度とする。

## 2 産学官連携で推進する最先端の研究や技術の高度化

■ コホート研究・バイオバンクの利活用の推進

前向きゲノムコホート研究、認知症の発症過程の解析と先制医療実現、及び疾患別情報統合データベースの構築を推進する。

■ 創薬研究の環境整備と創薬基盤技術の高度化

・ 最先端大型研究施設・設備の整備と利活用の推進

①クライオ電子顕微鏡を用いたタンパク質構造解析技術の高度化、②超高磁場 NMR の整備を行う。

- ・ 新たなモダリティに対応した創薬基盤技術の高度化
  - ①次世代ライブラリを活用したスクリーニング法開発、②タンパク質分解誘導薬の開発、③RNA 創薬技術の開発、④ドラッグデリバリーシステム（DDS）技術の開発を推進する。
- ・ 研究開発の発展に資する高機能 AI の開発と利活用の推進
  - 実効性を持って創薬研究を効率化できる創薬 AI の開発を推進する。

これまでの「製薬協 産業ビジョン2025」で示した将来像と、その実現に向けた方策である「製薬協 政策提言2019」及び『第2期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案』や、「感染症治療薬・ワクチンの創生に向けた製薬協提言 ―新型コロナウイルス感染症発生を契機として―」の取組みを引き続き推進しつつ、この「製薬協 政策提言2021」をあわせて産学官で推進することで、創薬イノベーションを推進したい。

## II イノベーションの推進と国民皆保険の持続性との両立を求めて

2018年度に実施された薬価制度の抜本改革は、薬価の引下げに偏った改革であり、製薬企業に与える影響は多大なものであった。そこで、2020年度以降の薬価制度改革においては、イノベーションが推進され、医療の質の向上に資する改革となるよう「製薬協 政策提言2019」を策定し、制度の改善に向けた活動を推進してきた。2020年度薬価制度改革においては、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の見直しや治療の質向上に資する医療的価値の評価など、製薬業界の要望が一定程度認められたものの、医薬品の多様な価値の評価や類似薬選定の基準見直しなど、実現には至らなかった課題もある。

他方、団塊の世代が後期高齢者となり始める2022年度以降を見据えれば、社会保障制度改革に必要な財源を薬価改定に求めるこれまでの手法は、もはや限界である。我が国の将来の医療・社会保障の在り方について、国民的な議論を経た上で、医療システムそのものの改革を推進することが必要である。

さらに、瞬く間に全世界に拡がり、未だ収束の兆しが見えていない新型コロナウイルス感染症は、世界各国の経済活動や社会活動を麻痺させ、地球規模で重大な社会問題となっており、我が国においても医療現場の逼迫が伝えられている。このような中、決定された2021年度薬価改定の対象は、品目数で7割、影響額にして全品目改定時の9割に及ぶ衝撃的なものであった。こうした環境下では、成長を続ける海外市場に比べ、制度への信頼性及び日本市場の魅力度が低下し、革新的医薬品への早期アクセス確保が困難になることを強く懸念せざるを得ない。

革新的医薬品を世界中の人々に速やかに届けることは製薬企業の使命であり、いかなる厳しい環境においても、「イノベーションの推進」と「国民皆保険の持続性」が予見性を持って両立できる仕組みを堅持しなければならない。イノベーションを推進し革新的医薬品へのアクセスを確保するためには、医薬品の評価体系を再編し、医薬品の多様な価値が公正かつ適切に評価される仕組みが必要である。また、国民から高い納得性・信頼性が得られるように、評価プロセスを速やかに改善すべきである。革新的医薬品が継続的に生み出され、疾病治療・健康維持に貢献するためには、今こそ抜本的な改革を行い、限られた財源の中でも、イノベーションに適切な配分がなされる環境整備が急務である。

本稿においては、政策提言を推進していくに当たり、まずは製薬業界が自らの役割を果たしていく姿を示すことが肝要であるとの認識の下、「製薬協 政策提言2019」で取り

まとめた「医薬品の適正使用の推進」に係る情報提供活動の適正化、薬剤耐性（AMR）問題への取組み、革新的医薬品の最適使用の推進、ポリファーマシー等への対応の現状及び今後に向けた取組みについて整理した。その上で、「全世代型社会保障制度改革」、「イノベーションの評価」と題し、製薬業界としてのスタンスを以下に取りまとめた。

## **全世代型社会保障制度改革**

### **■ 負担の見直し**

医療保険制度を支える負担の面でも、世代間の公平性確保の観点から、所得水準や支払い能力に応じたものとなるよう、見直しが図られる必要がある。

### **■ 給付の重点化・効率化**

重篤な疾患に対する治療や高額な費用を要する治療は保険で給付すべきであり、大きなリスクに備えるという社会保険制度の重要な役割が果たされるべきである。

### **■ 支える側と支えられる側のバランス**

超高齢社会においては、「支える側」と「支えられる側」のリバランスという考え方が重要であり、65歳以上であっても就労する意思がある高齢者が「支える側」となることが社会保障制度の持続性には欠かせない。

## **イノベーションの評価**

### **■ 医薬品の多様な価値の評価**

高齢者であっても、心身の不安を抱かずに健康に働くことができるために、医薬品が貢献する余地は多く、このような社会保障制度の持続性に寄与する医薬品の価値は一定の評価がなされるべきである。

### **■ 類似薬選定の基準見直し**

原価計算方式において、製品総原価の開示度が低い品目が多いことに対する批判が高まっている。類似薬選定に係る基準については、現行の4つの類似薬選定基準に加え、臨床的位置づけ等の医療実態を含めて総合的に勘案することができるものとするなど、類似薬の対象を拡大し、より適切な類似薬を選定した上で類似薬効比較方式による算定が可能となる仕組みの検討が必要である。

### **■ 薬価収載後のイノベーション評価**

収載後における医薬品の価値の変化を踏まえ、収載時薬価の妥当性を再度評価するため、収載後一定期間後に医薬品の価値を評価し、改めて薬価算定を行う仕組みが必要である。

### **■ 新薬の評価プロセスの改善**

薬価の算定結果に至るまでの算定プロセスが透明性に欠け、ブラックボックス化されているとの指摘を受け、現在薬価算定組織の議事録の開示に向けて検討が行われている。医薬品の多様な価値を適切に評価するためには、医薬品を創出した企業がその価値を主体的に説明し、独立した第三者機関においてその妥当性を評価するプロセスが必要である。

### **■ 我が国の医薬品市場とイノベーションへのアクセス**

我が国の医薬品市場は先進国の中で最も低い成長率となっており、今後は横ばいまたはマイナス成長との予測もある。一方で医薬品の安定供給は製薬産業の責務であり、必須医薬品の備蓄や国産化のための費用は確保しなければならない。そのような状況下でもイノベーションの推進が継続し、製薬産業が成長産業の一つとして日本経済を牽引するためには、少なくとも新薬市場は海外に比して見劣りせず魅力あるものでなければならない。

# I テクノロジー新時代のイノベーション創出に向けた環境整備

## 1 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための基盤整備

創薬標的の複雑化、科学技術の高度化・多様化、研究開発コストの高騰等により製薬企業単独で新薬を創出する難易度は高まっている。そのため、研究開発においてオープンイノベーションが重要であり、産学連携のみならず、非競争領域においては産産連携等を通して、創薬の多様な取組みを進めている。一方で、各国がこの領域の環境整備を図る中で、日本の質の高い医療を元にした健康医療データ基盤、全ゲノム基盤を早急に構築し、民間企業が利活用できる環境を整えて DX を推進することは、日本が世界に先駆けて革新的な医薬品を創出する場になるのみならず、予防・早期診断・先制医療等の幅広い健康医療ソリューションの創出を実現する場になる上でも重要である。また、健康医療データを利活用するための個人情報保護制度の整備、革新的な医薬品・ソリューションを迅速に評価する薬事関連施策や知的財産関連施策の推進、研究開発税制の更なる充実など、民間セクターの研究開発をサポートすることにより、イノベーションの好循環が期待される。

### 1.1 デジタルトランスフォーメーション (DX) による医療と創薬研究開発の高度化

#### 1.1.1 デジタルトランスフォーメーション (DX) の推進

日本は、国民皆保険制度の下で収集された豊富な医療情報が存在するにもかかわらず、電子カルテの普及率の低迷、電子カルテの規格の乱立、データを連結するための個人の医療分野における識別子の未導入等の課題から、医療情報の構造化・標準化が不十分であり、利活用が進んでいない。今般の新型コロナウイルス感染症のパンデミックにおいても、医療機関の間でのデータ共有ができず、医療現場に混乱が生じたことから、対策強化が急務である。

「製薬協 政策提言 2019」でも提案した通り、健康寿命の延伸や QOL の向上のため、国民の理解を得た上で、医療情報、さらには健康情報・ゲノム・オミックス情報等を連結して健康医療ビッグデータを構築し実診療に還元する「1.5 次利用」、さらには多くのステークホルダーによる「2 次利用」を推進することが急務である。このような健康医療分野の研究開発における DX を日本において産学官や異業種連携の下で進めることにより、今後高齢化による様々な課題に直面する世界において、最も高齢化が進む課題先進国である日本がイニシアティブを発揮し、様々な革新的ソリューションを生み出す等の新たな価値を創造することが可能になる。

本章での「研究開発における DX」とは、患者・国民の健康医療ビッグデータを活用し、AI 等の開発と活用により、新たな医療価値を創造するものである。具体的には研究開発プロセスの様々な場面において、個別化医療及び予防・先制医療等の実現に資する創薬標的やバイオマーカーの同定、医薬品候補のデザインやスクリーニングの効率化、治験や臨床研究のスピードアップ、成功確率向上、コスト低下、個別に最適化された適正使用情報やソリューション（例：早期診断支援、有害事象の早期検知）の提供等が可能となる。

このような DX の推進のために、PHR、医療データ、健診・検診データ、介護データを含む健康医療データの「基盤構築」と「利活用」に向け、産学官連携の下、政府主導による以下の取組みが必要である。

- (1) 健康医療データ基盤構築に向けた取組み
  - ① 健康医療データの標準化・精緻化・構造化
    - ・電子カルテの普及率向上
    - ・電子カルテ標準化等の健康医療データ標準化
    - ・健康医療データの構造化
  - ② 健康医療データの連結・統合
    - ・医療分野における識別子の導入
    - ・仮名化データの利活用を可能とする環境整備（1.1.3 章参照）
    - ・国民のデータポータビリティの推進
  - ③ 医薬品の研究・開発・安全性監視用のデータベースの構築
    - ・ゲノム・オミックス情報と臨床情報の統合データベース構築（1.1.2 章及び 2 章参照）
    - ・レジストリ構築の推進（クリニカル・イノベーション・ネットワークの推進）
    - ・リアルワールドデータの利活用推進（NDB の製薬企業の利活用推進、MID-NET の利便性向上等）
  - ④ データセキュリティと利便性を両立する基盤構築に向けた技術開発支援  
ブロックチェーン技術、秘密計算技術等の技術開発支援
  - ⑤ 国民理解の向上に向けた取組みと協力を得るための仕組み作り
    - ・産学官によるセミナー等を通じた継続的な啓発活動の実施
    - ・健康医療データ利活用から得られる知見や成果の国民・個人への還元、データ提供に対するインセンティブの付与に関する仕組みの産学官による検討
- (2) 健康医療データの利活用における取組み
  - ① レギュラトリーサイエンスの推進
    - ・レギュラトリーサイエンスを推進するための PMDA の質的・量的強化 [先端科学技術の情報収集（ホライズンスキヤニング）の強化等]
    - ・日本発のエマージングテクノロジーが国際競争で勝つための産学官連携によるレギュラトリーサイエンスの推進と法規制の整備
    - ・産学官連携によるレジストリやリアルワールドデータの承認申請への利活用推進のためのガイドライン策定及び利活用推進
  - ② 異業種連携を推進する基盤づくり
    - ・スタートアップ企業の育成支援の推進
    - ・多対多の産学官連携プロジェクトの推進（新薬・未承認薬等研究開発支援センターの活用等）
  - ③ 人材育成
    - ・データサイエンティスト（生物統計家、バイオインフォマティシャン、AI 技術者等）の育成・資格創設
    - ・DX に関する教育課程及び社会人リカレント教育プログラムの拡充

これらの取組みにおいて、データホルダーに民間の力を活用することで、健康医療データ利活用のエコシステムを構築し、サステナブルな仕組みとしていくことも重要であると考えます。

### 1.1.2 全ゲノム解析等実行計画の加速推進

ゲノムをはじめとするオミックス情報と臨床情報の利活用により、医療においてはゲノム情報に基づく診断・治療が可能になり医療の質がさらに向上するとともに、創薬においては科学的根拠に基づく研究開発が可能となることで成功確率の向上やスピードアップが期待される。これらは個別化医療と新たな診断・治療ソリューションの早期提供を可能とするもので、生活の質の向上や健康寿命の延伸、さらには医療コストの効率化に資するものである。

骨太方針 2019 に基づき、がん・難病領域における全ゲノム解析等実行計画が策定され、日本においてゲノム情報基盤を構築するという一大国家プロジェクトが進行中である。これは、まさに医療における DX をもたらす取組みであり、製薬協は極めて大きな期待を寄せている。それを踏まえ、この基盤が公共財として医療機関・アカデミア・産業界に広く利活用され、国民に対して様々な便益をもたらすゲノム医療基盤となるよう、製薬協として政府に対し、以下を要望する。

- (1) 既に英国の **Genomics England** をはじめ、他国の取組みが先行していることから、他国の取組みを凌駕する、産学官が利用できる基盤を迅速に構築する。そのためには、以下の実現が重要である。
  - ① 適切な検体での実施
    - ・産業利用や将来の追加解析に耐え得る包括的な同意が取得された検体
    - ・新鮮凍結検体のような、シーケンスやオミックス解析に適した検体
  - ② 充実した臨床情報の収集
    - ・標準化・構造化された時系列の情報収集
    - ・診断名（がん・難病以外の併存疾患を含む）、投薬情報、臨床検査値、画像データ等
    - ・データ入力の負担を軽減するための仕組みの構築や予算・人材措置
  - ③ オミックス情報の格納
    - ・トランスクリプトーム、エピゲノム情報等の収集
    - ・将来追加解析するための検体バンキング
  - ④ プロテオーム、メタボローム等の情報を格納できる拡張性の確保、安全かつ利便性の高い仕組み
    - ・リモートアクセスの実現（VPN＋仮想デスクトップ、個人情報保護の観点からも重要）
    - ・企業単独の研究開発目的の利用を想定した利活用体制・窓口・倫理審査等の一元化、迅速な手続き
    - ・追加解析、リコンタクト（医療機関や事業運営主体を介して、参加者に追加の情報提供の依頼や追加研究の紹介等を継続的に可能とする仕組み）等の柔軟な拡張性
    - ・膨大な情報の保管や解析に耐えうるクラウドの活用
- (2) ゲノム情報は重要かつ機微な個人情報であるため、国民の納得感・安心感を得るためにも、法律の下に設置された国の機関が管理することが適当である。そのため、ゲノム解析関連事業を戦略的に推進する計画を立案し、事業運営の責任を持つ、国の推進体制を速やかに整備する。推進体制が果たすべき主な機能は次の通り。

### ① 計画立案

- ・ 取得データの決定（ゲノム情報、充実した時系列の臨床情報の収集、オミックス情報等）
- ・ 日常生活データの収集データベースの設計（ファイアウォール、利活用者のアクセス方法等）
- ・ 検体取得・解析方法策定
- ・ 利活用ルールの構築（知的財産権の取扱い等）
- ・ 事業間連携推進
- ・ 産学官連携・人材育成・ELSI等の対応

### ② 実行段階

- ・ 計画推進の全体統括
- ・ データベースの事業運営・利活用推進

(3) 全ゲノム解析等実行計画においては、先行解析と本格解析の2段階で実施されることとなったが、先行解析で利用する既存のバイオバンク検体は、同意取得状況によって企業単独による研究開発目的での利用が制限されるものが大半であることが想定される。したがって、先行解析は本格解析の制度設計に必要な最小限度の計画とした上で迅速に実施し、現行の実行計画の前倒しも視野に速やかに本格解析を開始する。

#### 1.1.3 個人情報保護制度の整備

創薬をはじめとする健康医療分野の研究開発において健康医療ビッグデータを利活用するためには、データ基盤の構築とともに、法制度等の環境整備が極めて重要である。

次世代医療基盤法が施行されたが、創薬目的のニーズを全て満たすものではなく、医療分野における研究開発での利用は限定される恐れがある。

また、個人情報保護法は、3年ごとに見直されることとなっており、法律の変更の度に同意の要件が変更される可能性がある。実際に平成27年改正では、要配慮個人情報の収集・第三者提供、個人データの域外移転についての同意取得の規定が、令和2年改正では「外国にある第三者への提供に係る情報提供等」の規定が追加された。製薬企業が創薬目的で利用する健康医療データは仮名化されたデータであり、医療機関等を経由して入手するのが国際的にも一般的である。つまり、製薬企業は氏名や住所、電話番号等の本人（患者）に直接接触するための情報は全く保有していない。よって、同意の要件が変更されても、新たな同意要件を満たすために製薬企業が本人（患者）から同意を取得することができず、また臨床試験等のデータは、場合によっては10年を超える年月をかけて収集されるため、医療機関が改めて同意を得ることも困難である。3年ごとの法改正の度に同意の要件が変更され、過去に取得した同意が無効となりデータ利用ができないような事態になれば、医薬品開発に重大な支障をきたすことから、医薬品産業の研究開発の特殊性を考えると、一般法としての現行の個人情報保護法のみでは不十分であるといえる。

個人情報保護法第1条（目的）にあるように、「個人の権利利益」の保護と「個人情報の適正かつ効果的な活用が新たな産業の創出並びに活力ある経済社会及び豊かな国民生活の実現に資するものである」との基本的考え方を踏まえつつ、国際協調と国際競争の視点に基づいた健康医療分野の研究開発における個人情報の利活用のための環境整備が必要である。これらのことから、以下の対応を政府に要望する。

- (1) 個人情報保護法の令和 2 年改正における「外国にある第三者への提供に係る情報提供等」の規定は、医薬品開発において前述の通り重大な悪影響を及ぼす。製薬企業は本人（患者）から必要な同意を得た上でデータを取得するが、特に治験の早期段階ではどの国に申請するかは決まっておらず、最終的な申請国数も膨大になる場合がある。また、氏名や連絡先等の本人に繋がるデータを入手していないため、令和 2 年改正に適合する前の同意説明文書を用いて収集したデータを改正後に域外移転するための再同意を得ることができない。そのため「個人情報保護法いわゆる 3 年ごと見直し制度改正大綱」の趣旨からも、事業者の意見を踏まえた新たな負担とならないものとする。
- (2) 次世代医療基盤法の施行により匿名加工医療情報が利用可能となったが、一定量以上のゲノムデータや一部の画像情報は匿名加工ができないことや、データの正確性や信頼性の確保の困難さが生じる可能性があることから、医療分野における研究開発での利用は限定される恐れがある。また、製薬企業や研究者間で臨床試験・臨床研究のデータシェアリングを広めることで、医療分野における研究開発の発展が期待できる。そのため、仮名化データの利活用を可能とする環境整備について検討を行う。
- (3) 「個人情報保護法いわゆる 3 年ごと見直し制度改正大綱」で方向性が示されている通り、製薬企業が医療の向上に資する医薬品等の研究・開発等の推進の目的で個人情報を利用する場合について、公衆衛生の向上を目的として例外規定に該当するとの解釈を、ガイドラインや Q&A で示す。
- (4) いわゆる「個人情報保護法制 2000 個問題」を解消することで、個人情報を保有する組織・団体に係る法令の違いから健康医療分野のデータ連結による研究開発が阻害されている現状を速やかに解消する。
- (5) 2019 年は、がんの遺伝子パネル検査が保険適用され、さらには、がん・難病領域における「全ゲノム解析等実行計画」が策定される等、「日本のゲノム医療元年」と呼ぶにふさわしい年となった。一方で、国民への理解促進や、ゲノム情報に基づく本人や親族の差別禁止等の倫理・社会的課題解決のための法制度整備等、ELSI 面での課題は多い。課題解決に向け、ELSI 人材の育成と、国民の安心・安全のための速やかな環境整備を行う。

## 1.2 薬事、知的財産関連施策等の推進

世界に先駆けて革新的な医薬品や医療ソリューションを創出し、一刻も早く患者に届けるためには、薬事関連施策の推進が重要である。先駆的医薬品指定制度、条件付き早期承認制度に続く革新的な制度の導入が国内での研究開発の促進に繋がる。健康医療ビッグデータの利活用による予防・先制医療の進展、細胞療法や遺伝子治療等の新規モダリティ、ソフトウェア・アプリ等のデジタルヘルスの登場等、技術進歩や医療の進化による研究開発環境の変化が予想されること、加えて新型コロナウイルス感染症の経験を踏まえた各種制度改革が急務であり、これらの変化に対応する柔軟な薬事関連施策への積極的な取り組みが求められる。

新薬創出の難易度が高まり企業の研究開発費が増加し続ける中で、市場独占期間は非常に重要である。医薬品開発においては特許出願から製品上市までに長期間を要することから、上限 5 年の延長制度が措置されているものの、特許に基づく市場独占期間は短くなっている。特に新規モダリティを活用した革新的治療では、医薬品の開発に加え新たな技術開発が求められることより、研究開発が長期になる上に巨額の研究

開発投資・技術開発投資が求められることから、新たなデータ保護期間の付与制度の創設等が必要と考える。さらに、再生医療、AI・健康医療ビッグデータ等の先端技術が適切に保護されるように知的財産制度の見直しが期待される。

国内のみならず世界における医療の質の向上にも寄与しつつ医療分野の研究開発の発展に繋げる好循環を生み出すため、国際的な薬事規制調和の推進及び各国における知的財産権の保全強化・投資制限の撤廃等、日本発の革新的な医薬品や医療ソリューションを世界にいち早く届けるための基盤整備、そのための日本の強いリーダーシップが求められる。特に、人種的・地域的・文化的に近く、市場として大きいポテンシャルを持つアジア諸国における取組みの重要性が増す中、APACプロジェクト、国別二国間会合、「アジア医薬品・医療機器薬事トレーニングセンター」の取組み等を推進し、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」で定めた実行戦略を確実なものとし、薬事規制の議論においてアジア域内での規制調和に寄与することを期待する。

具体的に、政府に下記事項を要望する。

#### (1) 国内薬事関連施策の推進

- ① 新型コロナウイルス感染症の経験を踏まえた薬事制度改革と評価環境整備
  - ▶ エビデンスレベルや緊急性等に応じた柔軟な薬事判断を可能とする制度体系の構築（緊急使用許可制度の整備、条件付き承認制度利用拡大等）
  - ▶ 臨床研究成果の有効な活用を可能とする薬事規制の実現
  - ▶ 薬事承認申請等に係る手続きの合理化（電子化、オンライン化等）
  - ▶ 来院に依存しない臨床試験推進のための体制整備
- ② 医薬品の早期実用化を促進する制度の充実
  - ▶ 先駆的医薬品審査指定制度・体外診断用医薬品・再生医療等製品指定制度、医薬品条件付き早期承認制度の運用の充実
  - ▶ 臨床研究法下で実施される特定臨床研究結果の薬事的活用の推進
  - ▶ 希少疾病用医薬品の早期指定
  - ▶ 効能追加における審査期間の短縮
  - ▶ 確立したサロゲートエンドポイントの積極的な活用による開発期間の短縮
- ③ 技術進歩や健康医療ビッグデータに対応した柔軟な評価環境（評価手法・評価基準）整備及び規制の改正（薬機法改正頻度、通知による早期明示等）
  - ▶ ホライズンスキニングの結果を早期かつ有効に薬事規制に活用するための体制整備
  - ▶ 遺伝子治療や再生医療等の新規モダリティや治療用ソフトウェア・アプリ等の特徴を踏まえ、それらを適正に評価するためのレギュラトリーサイエンスへのタイムリーな取組みと審査体制の早期構築
  - ▶ 先制医療や精密医療実現のための新規治療法開発に適した臨床評価指標（予測マーカー等）及び評価手法（統計手法、モデル化等）の検討
  - ▶ 健康医療ビッグデータやリアルワールドデータを活用した医薬品開発に対する薬事制度の早期整備（効能追加、対照群としての活用、AI解析を用いたサロゲートエンドポイントの探索等）
- ④ 審査・調査の更なる効率化・合理化
  - ▶ GCP 実施調査／適合性書面調査、GPSP 調査の効率化。例えば、調査対象（申請者、医療機関等）ごとに適合判定を行い、一定期間の有効期間を設ける等

- ▶ 審査プロセスの見直し（PMDA 専門委員の審査に早期から参入）
- (2) 国際規制調和の推進と日本の薬事承認の国際標準化推進
- ① 日本当局の世界におけるリーダーシップの発揮
    - ▶ 国内にて導入された先進的な制度の国際標準化戦略策定・推進（条件付き承認、健康医療ビッグデータ・AI 対応等）
    - ▶ 日本当局による日本の規制の考え方・根拠の英文書発信
    - ▶ GMP 相互認証の推進及び GCP 相互認証の実現へ向けた国際連携の推進
    - ▶ 日本の薬事承認に対する簡略審査制度をアジア全体に導入するための連携強化
    - ▶ ASEAN 標準・品質諮問委員会医薬品ワーキンググループ（ACCSQ-PPWG）への積極的な関与
  - ② 国際的な健康医療ビッグデータの構築・利活用促進と、対応する薬事規制調和
    - ▶ 多国間の安全性データ（市販後データ含む）の集約・分析の推進、日本のリードによる国際データベース構築
    - ▶ 日本発の患者レジストリの世界展開
    - ▶ 海外のレジストリやリアルワールドデータの活用
    - ▶ 国際的な健康医療ビッグデータの利活用を促進するための薬事規制調和
    - ▶ 新型コロナウイルスワクチンの安全性監視及び情報共有に関する国際連携
  - ③ 国際共同治験の推進
    - ▶ ICH E17 ガイドライン活用・普及の推進（国内関連通知の国際整合化含む）
    - ▶ 治験使用薬の安全性情報収集・報告に係る国際的整合性の向上
- (3) 研究開発投資を促進する適切な市場独占期間の確保及び知的財産権に基づく税制措置
- ▶ データ保護制度の創設
    - ・再審査制度から独立したデータ保護制度の創設による、データ保護の恒久的な安定化、小児向け医薬品の研究開発投資の促進
  - ▶ 再生医療、AI・健康医療ビッグデータ等の先端技術に係る特性を踏まえた知的財産制度の創設
  - ▶ 知的財産権から生じた所得に対する法人税の軽減を認めるパテントボックス制度の創設
- (4) 国際的な知的財産権保護の促進
- 新興国・途上国、あるいは一部の新興感染症においては、知的財産権が十分に保護されていない状況が議論されることもある。投資環境を改善し、イノベーションを促進するためにも、知的財産権保護・保全に向けた取組みを推進するべきである。
- ▶ 知的財産権保護制度への理解促進
  - ▶ 臨床試験データ保護制度の導入促進
  - ▶ 特許期間延長制度の普及
  - ▶ パテントリンケージ制度の普及
- (5) 投資制限撤廃の推進
- 各国で現地企業保護・強制現地製造等の投資制限により、現地国民の革新的な医薬品へのアクセスが阻害されている場合がある。また、研究開発型医薬品産業は限

られた特許保護期間内にグローバル市場で投資を回収するビジネスモデルであるため、各国の投資制限はイノベーション阻害に繋がっている。そのため政府主導で各国の投資制限の撤廃を働きかけることが必要と考える。

#### (6) 製造販売後安全対策の更なる充実

上記の施策の推進により、世界に先駆けて我が国で新薬が使用されることを踏まえ、製造販売後安全対策の更なる充実が求められる。については、リアルワールドデータの利活用による安全対策の充実や、再生医療等製品、小児向けの医薬品及びAMR 治療薬、希少疾患用医薬品等の安全性情報が集まりにくい医薬品について、再審査期間の延長等の措置が必要と考える。

### 1.3 研究開発税制の強化

新薬の研究開発は10年以上の長期にわたり、グローバル開発には数千億円程度の高額な投資が必要となるだけでなく、その成功確率は約3万分の1と非常に低く、極めてハイリスクで生産性が低いものとなっている。また、その研究開発投資を後発医薬品が上市されるまでの一定期間で回収しなければ企業経営が成立しないビジネスモデルである。

一方、医薬品の研究開発は、経済成長の原動力となるため、研究開発への投資だけでなく研究開発拠点の招致についても国際的な競争が激化の一途をたどっている。よって、海外先進国においては、予算措置といった直接的支援のみならず、研究開発税制による間接的支援も充実させ、製薬産業及び周辺のライフサイエンス全般のイノベーション施策を積極的に展開している。日本においては、政府支援の対民間研究開発投資は、欧米諸国や近隣の中国、韓国等のアジア諸国と比較して、決して恵まれたものとは言えない。さらに、2年ごとに大きく税制改正が行われるため、長期安定的で予見可能性の高い制度構築が求められるところである。

また、研究開発型の製薬企業にとって個社完結型の創薬活動は限界を迎えつつあり、アカデミア、ベンチャー、民間企業、或いは他の関連産業等との共同研究や委託研究によるオープンイノベーションが、極めて重要な位置づけとなっている。

かかる環境下において医薬品産業には、持続的成長を見据えた研究開発活動が必須であるため、投資に積極的な企業に対する税額控除のインセンティブを充実するとともにオープンイノベーションをさらに発展させるため、以下の制度改革を政府に要望する。

- ① イノベーションを一層推進するための制度とする
- ② 研究開発投資を高水準で持続的に実施している企業を評価する制度とする
- ③ 研究開発投資に見合った減税が得られる制度とする
- ④ 制度の実効性を高めるために、長期安定的で予見可能性の高い制度とする

## 2 産学官連携で推進する最先端の研究や技術の高度化

創薬の研究開発には、ヒトの複雑な病態の解明研究、最先端基盤技術の活用、新たなモダリティの開発が必要となっている。世界最先端のヘルスケアエコシステムを構築し、産学官が一体となって世界最先端の研究や技術開発を行い、イノベーションの創造に取り組むことにより、安全性・有効性が高く、世界の患者のQOL向上に貢献する新薬開発の実現が期待される。AMEDの設立以降、創薬について産学官で連携する機会が格段に増えた。今後は複数の企業及びアカデミアが協同して行う「多対多」

の事業や、5年、10年といった長期にわたる事業（コホート研究等）をこれまで以上に実施できるよう、より柔軟で強固な創薬基盤を構築する必要がある。また、近年は新たなモダリティの研究が海外先行で進んでいるが、日本においても技術が未成熟な段階から失敗を恐れず取り組み、後れをとらないようにする必要がある。

そのためには、複数年度にわたる事業を安定・安心して維持できるよう、あらかじめ財源を確保することや状況の変化に応じて柔軟に活用できることが必須となる。第2期健康・医療戦略では「基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進する」とされており、基金等の活用による、長期・大型の産学官連携事業の推進が必要である。

上述の事業を円滑に推進するためには、産学官連携の重要な役割を担うAMEDが、基金等による予算面のみならず、人材面についても強化する必要がある。特に、創薬ビジネス経験のある人材、新たなモダリティの開発・製造に精通した人材や海外からの人材、AI等異分野の専門家の登用、NIH等の海外機関との交流を通じた人材育成等を推進することが期待される。また、AMED事業で行われた基礎研究・応用研究の成果を効率的に実用化へと繋ぐ事が必要であり、知的財産権の確保や企業導出等の出口戦略を見据えた目標設定が必要である。

さらに、AMED事業等で産み出された革新的な技術や創薬シーズを用いた医薬品を一刻も早く患者に届けるためには、レギュラトリーサイエンスの推進が必要不可欠である。AMEDとPMDAの更なる連携強化や、産学の専門家の意見を反映し、最先端技術に対応し得る新たなガイドラインの作成等が必要である。

## 2.1 コホート研究・バイオバンクの利活用の推進

予防・先制医療を実現するためには、複数の遺伝的要因と環境要因に起因する複雑な疾患の発症・重症化メカニズムを解明する必要がある。ToMMoを代表例とするコホート研究や、国立高度専門医療研究センター（NC）や全国のアカデミアにて整備が進められているバイオバンクを多くの研究者が利活用できることが重要である。

### 2.1.1 前向きゲノムコホート研究の推進【継続\*1】

ToMMoは、三世代コホートを含む約15万人を長期間追跡し、生活習慣に関する調査票データやMRI画像データ、全ゲノム解析を含むオミックス情報等を取得しており、世界に類をみない貴重なバイオバンクである。ToMMoのデータは創薬の観点からも有用であり、ToMMoと製薬協は、生活習慣と脳形態、認知機能・心理機能の関連解析研究、睡眠障害の層別化に向けたバイオマーカー探索のための予備的研究、日本人における遺伝性乳がん卵巣がん症候群及びリンチ症候群の原因病的バリエーションの頻度と罹患状況に関する予備的研究といった共同研究契約を締結した。これらの共同研究は、1年程度の試行的なパイロット研究として実施し、その結果に基づき、より長期にわたる共同研究を実施する予定である。また、製薬企業以外にも、多様な企業やアカデミアがToMMoのデータを利活用しており、ToMMoのデータをより充実したものとし利活用を推進することが、日本のヘルスケアを発展させる上で重要である。

具体的には、次期事業期間（2021年度からの10年間程度）において、政府主導による以下の取組みが必要である。

- ① ウェアラブル機器を用いた詳細な生活習慣データの集積。製薬企業も共同研究等を通じて企画立案や資金提供等で貢献

---

\*1 「製薬協 政策提言 2019」をもとに開始した事業の継続

- ② 公的資金をベースに ToMMo と製薬企業で共同して 10 万人規模の全ゲノム解析を実施
- ③ 他のバイオバンクとの連携を推進し、利活用者が ToMMo 及び他のバイオバンクのデータを統合解析できる環境を国が整備
- ④ 宮城、岩手県内の医療機関と連携し、ToMMo に参加している住民の健康医療データを ToMMo と連結させ、医療のみならず産業界も利活用できる体制を産学連携により構築
- ⑤ 共同研究を支援する人材（データ解析、事務局機能担当者等）の育成・確保

### 2.1.2 認知症の発症過程の解析と先制医療実現の推進【継続】

高齢化が進む日本において認知症対策は喫緊の課題であり、認知症の約 7 割を占める AD に対して治療薬の開発が盛んに行われてきた。これまでの治療薬開発の結果、治療薬の効果は認知機能の障害が明らかになった段階では得られづらく、より早期からの薬剤介入が期待されている。しかしながら、より早期になるにつれて被験者登録等が困難となり、治験の巨大化・遅延の原因になっている。このように症状はまだ無いが病理変化が始まっている「プレクリニカル期」、症状が軽度認知障害レベルにとどまっている「プロドローマル期」を対象とした研究の重要性が認識される中、「認知症プレクリニカル期・プロドローマル期を対象とするトライアルレディコホート（J-TRC）構築研究」が 2019 年より AMED 事業として実施されている。

製薬企業も、J-TRC 構築研究で得られたデータや生体試料を利活用して AD の発症メカニズムを解析することによる創薬標的やバイオマーカーの同定、AD の発症前段階の被験者を対象とした先制医療実現の加速化ができるものと期待しており、研究がより充実したものとなるよう、製薬協が中心となり当該研究の関係者と意見交換を行っている。

J-TRC 構築研究を認知症治療薬の研究開発に繋げるためには、政府主導による以下の取組みが必要である。

- ① 国主体で J-TRC 構築研究におけるコホート数を充実
- ② 産学官連携の研究で得られたデータ及び生体試料を民間企業も利活用できる仕組みを構築
- ③ 産学官連携で超早期を含むプレクリニカル AD 患者を対象とした長期の経過観察を行う研究を推進

### 2.1.3 疾患別情報統合データベースの構築【継続】

多様で複雑な疾患を深く理解し、疾患発症、病態の進行あるいは重症化予防に関連する創薬標的やバイオマーカーを見出すためには、患者個々人の DNA、RNA、タンパク質、代謝分子等を網羅的に測定し、臨床情報と併せて分析を行う多層的オミックス解析が重要である。そのため、各種オミックス情報と詳細な臨床情報が連結された統合データベースは、今後の革新的な医薬品創出に必須なインフラであると考えられる。

特に精神・神経領域と免疫炎症領域の疾患における統合データベースは、アンメットメディカルニーズの視点からも産学からのニーズが高く、「製薬協 政策提言 2019」の発表以来、製薬協は NC と連携し、本領域において NC が保有する既存試料あるいは前向きに採取する試料を用いたゲノム・オミックス解析と、それに紐づく臨床情報を統合した「疾患別情報統合データベース」の構築を目指し取り組んできた。さらに、2020 年度の AMED「産学官共同臨床情報利活用創薬プロジェクト（GAPFREE）」に

複数の製薬企業と複数のNCの産学連合として研究提案を行い、採択されるに至った。本事業を通じ、多層的オミックス解析による疾患別バイオマーカーあるいは新規創薬標的の発掘に向けた創薬研究を推進し、予防・先制医療の実現に向けた研究基盤構築の足掛かりにしたいと考えている。また、今回は2つの領域に着目して進めたが、本研究から得られる成果・知見を他疾患の創薬等にも還元すべく、新たな疾患や領域へ拡大することは、アンメットメディカルニーズの観点からも重要である。一方、本研究を深化させ、より充実したものとするためには、政府主導による以下の取組みが必要である。

- ① 最先端の解析・医薬品の評価を担う専門人材の育成を目的とし、本研究から得られるデータ基盤を産学官連携による非競争的な人材育成の場として活用（例：臨床薬理学・バイオインフォマティクス・医療統計学・データサイエンス・レギュラトリーサイエンス等）
- ② オミックス情報や診療情報を統合する本研究に加え、技術革新が急激に進むIoT・センシング等のデジタル技術を活用した日常データの取得、及びそれらの統合的解析を産学官連携により実施
- ③ 国で進められている ToMMo 等の健常人コホートや各種バイオバンク、疾患レジストリ等、他の健康医療情報等データベースとの相互利活用についての実証研究を産学官連携により実施

## 2.2 創薬研究の環境整備と創薬基盤技術の高度化

新薬創出の難易度・コストは上昇し続けており、医薬品の研究開発競争の厳しさは増している。抗体医薬への取組みにおいては、国内製薬企業の多くは完全に出遅れ、世界に水をあけられた。企業規模の違いの他、産学連携の不足、ベンチャー育成を含めた国策としての研究開発戦略の不足、CMO/CDMO も含めた国内の製造基盤の不足、新技術に対応する規制対応の遅れ等が背景として考えられる。この研究開発競争の遅れを埋めるためには、最先端機器の効率的な活用、創薬研究に資するAIの開発、新たなモダリティの研究等の技術面と、それらに関わる人材育成面、さらには海外との競争に打ち勝つための規制面について、産学官が一体となって総合的に取り組んでいく必要がある。

### 2.2.1 最先端大型研究施設・設備の整備と利活用の推進

低分子創薬のみならず、様々なモダリティを用いた革新的な治療薬やワクチンの研究開発を推進するためには、クライオ電子顕微鏡や超高磁場核磁気共鳴装置（超高磁場 NMR）といった最先端装置を用いて、タンパク質の機能と構造を詳細に解析することが不可欠である。

しかし、これらは大型・高額の研究装置であることに加え、設備の維持・利用に高度な技術と人材を必要とするため、国による基盤整備と企業との連携を中長期的な視野で取り組む必要がある。

#### 2.2.1.1 クライオ電子顕微鏡を用いたタンパク質構造解析技術の高度化【継続】

クライオ電子顕微鏡を用いたタンパク質の構造解析は世界各国で行われており、欧米や中国ではメーカーとの連携による共有化や国策等により製薬企業の利用機会が拡大する一方で、国内ではクライオ電子顕微鏡の台数が海外に劣後する上にその周辺インフラの整備が進んでおらず、専門知識を持つ人材不足も相まって、企業のアクセ

スが著しく限定されている。

そのような現状を踏まえて、「製薬協 政策提言 2019」では、公的支援によるクライオ電子顕微鏡の新たな設置と企業が利活用しやすい環境整備を提言し、産学官で検討を行ってきた。その結果、これまでに新たな装置がアカデミアに複数台設置され、利活用のための環境整備も進んでいるところである。クライオ電子顕微鏡に対するアカデミアと企業のニーズも益々増加する中、今後は、さらに以下の政府主導による取組みが必要である。

- ① 公的支援によるクライオ電子顕微鏡設置機関におけるデータ記録機器、解析環境等の周辺装置の整備や技官職の雇用強化。幅の広い活用機会を増やすため、高性能のハイエンド機と、スクリーニング機として使用可能なローエンド機をバランスよく配置
- ② 企業が利活用しやすい体制構築（リモート化を含む）と測定機会の確保
- ③ 企業からの OJT（サンプル調製技術を含む）やクロスアポイントメント制度を利用した専門人材の集約的かつ連続的な育成

### 2.2.1.2 超高磁場 NMR の整備【新規\*2】

NMR は、医薬品の分子設計を目的としたタンパク質の構造解析から、医薬品の製造・品質管理における研究まで、創薬に幅広く使用される技術である。近年、950MHz の高磁場 NMR の進化で中分子及び高分子医薬品に対する分解能及び感度が向上し、従来の構造解析では困難であった動的特性解析や生細胞におけるタンパク質の相互作用解析等の研究が可能となりつつあるが、世界的にはさらに 1.2GHz の超高磁場 NMR が登場し、これによりヒトのプロテオームの 30～50%を占める天然変性タンパク質等の機能解明や創薬に繋がる応用研究への展開が期待されている。

既に欧米や韓国から合計 10 台以上の超高磁場 NMR を導入する計画が公表され、複数の設備が稼働を始めている一方、日本には超高磁場 NMR を保有しているアカデミア、企業や機関は存在せず、今後の導入も未定である。NMR は有機化合物・タンパク質の構造解析のみならず、二次電池（繰り返し充電可能な電池）の素材やディスプレイに利用される半導体微粒子の状態解析に活用されており、NMR 研究の大幅な遅れが製薬産業だけでなく複数の産業における国際競争力の低下に繋がる懸念される。

世界からの出遅れを取り戻し、国際競争力を強化するために、政府主導による以下の取組みが必要である。

- ① 従来の高磁場 NMR を保有しているアカデミアの施設に、超高磁場 NMR 装置を複数台設置（まずは東西の構造解析拠点に 1 台ずつ設置）、技術者も育成しながら段階的に導入し、現有の設備との連携を推進するとともに、企業の利用機会を拡大
- ② 企業から人的リソースを供出し、OJT によって産業界の技術者を育成
- ③ 製薬企業からの情報提供を活用し、医薬品の分子設計や製造・品質管理等、製薬企業の課題解決に繋がる基礎研究を推進
- ④ NMR とクライオ電子顕微鏡を補完的に使用することでより合理的な分子設計が可能になり、これらの機器を十分に活用するためには高度なスパコンも必要になるため、クライオ電子顕微鏡や富岳に関連する（一社）HPCI コンソーシアムの

---

\*2 「製薬協 政策提言 2021」からの新規提案事業

事業と NMR 関連事業との連携を高め、シナジー効果を創出

## 2.2.2 新たなモダリティに対応した創薬基盤技術の高度化

既存の創薬技術では治療薬の開発が困難なアンメットメディカルニーズを満たすためには、改変抗体、細胞、核酸、遺伝子、中分子等の新たなモダリティに対応した創薬基盤技術を高度化させなければならない。新型コロナウイルス感染症に対しても、遺伝子組換え技術によるウイルスベクターワクチン、DNA ワクチン、RNA ワクチンや間質系幹細胞等を用いた治療法等が開発されており、新たなモダリティに対応した創薬基盤技術の高度化は重要な課題である。また、新たなモダリティの早期実用化を実現するために、当該モダリティの製造技術開発も早い段階から行うことが重要である。

具体的には、以下の取組みを産学官連携事業（AMED 事業等）として推進することが必要である。

### 2.2.2.1 次世代ライブラリを活用したスクリーニング法開発【継続】

創薬の初期段階において、これまでは数万～数十万程度の低分子化合物ライブラリから標的分子に対して活性を持つ化合物を探索することが一般的であったが、近年、創薬標的分子と結合する化合物を効率的に探索する新しいコンセプトのライブラリ及びそのスクリーニング法が注目を集めている。

「製薬協 政策提言 2019」発表後、次世代ライブラリを活用したスクリーニング法を確立すべく、複数の製薬企業からなるコンソーシアムが設立され、ノウハウや情報の蓄積を行っている。今後は産学による共同研究を通じて、本技術を利用した創薬手法の確立と同時に、国内の産学が広く活用でき、革新的な医薬品を産み出せる体制の構築・維持が必要である。

### 2.2.2.2 タンパク質分解誘導薬の開発【継続】

従来の低分子化合物の多くは、標的タンパク質の活性を阻害することで薬効を発揮していたが、近年は標的タンパク質を分解する中分子化合物（タンパク質分解誘導薬）が注目を集めている。これより、従来の低分子化合物では標的にできなかったタンパク質、例えば転写因子のように酵素活性がないタンパク質や、活性阻害薬に対して耐性を示すタンパク質等を標的とすることが可能になる。欧米ではタンパク質分解誘導薬のプラットフォーム技術を有する複数のスタートアップが大型の資金調達を収めるなど、その可能性に注目が集まっており、治験での POC が証明されつつある例も見られ、急速に実用化レベルでの地位を築きつつある。日本でもアカデミアの基礎研究を中心に検討が進んでおり、国内での研究をより推進することで、世界に伍する有力な技術とすることができる。

「製薬協 政策提言 2019」策定後、タンパク質分解誘導薬に関する知識を集約するために複数の製薬企業からなるコンソーシアムを設立した。今後、アカデミアと連携して化合物設計の手法を開発し、産学が共同活用できるタンパク質分解誘導物のライブラリを構築することが実用化に繋げるために必要である。

### 2.2.2.3 RNA 創薬技術の開発【新規】

近年、RNA 等の核酸を創薬標的とした医薬品が誕生し、がんや難病等に対して活用されつつある。それらの医薬品の多くは、核酸医薬や遺伝子治療等であるが、海外では低分子化合物による核酸を標的にできる創薬（RNA 創薬）技術を有するベンチ

ヤーやメガファーマ等による RNA 創薬が盛んに研究され、実用化が進められている。国内において、この研究分野は未成熟であるものの、2021 年度の AMED 事業として「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業（RNA 標的創薬技術開発）」が計画されており、これは、RNA 創薬を進めるために必要な研究基盤の整備に繋がる重要な事業である。

この事業を実現、推進することで、次世代医薬品としてのニーズが高い RNA 創薬の効率的な創薬プラットフォームの確立や技術の高度化が進み、All Japan による RNA 創薬を日本で実用化することができると考える。

#### 2.2.2.4 ドラッグデリバリーシステム (DDS) 技術の開発【新規】

近年、様々な創薬モダリティの研究開発が進んでいるが、特に、高い安全性の確保や適切な投与経路設計のハードルが高い核酸や中・高分子等、新たなモダリティ研究を進めるためには、薬効成分を必要な時間に必要な量を必要な組織に狙い通りに届ける、DDS の技術開発もあわせて取り組むことが必要不可欠である。世界に先駆けた新たなモダリティの医薬品創出に向け、より高度な DDS 技術開発を目指した非競争領域の基盤技術について、産業界での協業の議論を開始したところである。将来的には産学官一体で DDS に関する技術、規制、評価の観点から強化できる体制の構築を目指す。

#### 2.2.3 研究開発の発展に資する高機能 AI の開発と利活用の推進

高機能 AI は、アンメットメディカルニーズの抽出、非臨床データから臨床データの予測、治験の効率化、副作用の情報収集等、創薬テーマの創出から市販後に至るまで、幅広い分野での活用が期待されている。

製薬協では、「製薬協 政策提言 2019」に基づいた取組みの一つとして、産学官連携による低分子創薬の効率化を実現する AI の開発を検討してきた。その結果、AMED 事業「創薬支援推進事業－産学連携による次世代創薬 AI 開発」の下で理化学研究所等の国内研究機関やアカデミアと連携し、マルチターゲット予測と構造発生を組み合わせた包括的な創薬 AI プラットフォームの開発を開始した。本事業において製薬企業は各社が保有する構造活性相関情報等を提供するだけでなく、AI 開発研究者との連携・協働によって、実効性を持って創薬研究を効率化できる創薬 AI の開発を目指している。

また、AI を開発する産学連携コンソーシアムとしては、「ライフ インテリジェンス コンソーシアム (LINC)」が 3 年前に発足し、製薬・化学・食品・医療・ヘルスケア関連のライフ系企業と IT 企業が 100 社以上、アカデミアを含めて 500 人規模の研究者が AI 開発を推進してきた。本取組みは 2020 年 9 月で一旦終了したが、今後も post LINC として活動が継続する予定であり、AMED 事業や LINC 等の活動をベースに、創薬に資する高機能 AI の開発と活用を進めていく。

## Ⅱ イノベーションの推進と国民皆保険の持続性との両立を求めて

### 1 医薬品の適正使用の推進

#### 1.1 情報提供活動の適正化

医薬品の適正使用については、これまで副作用など安全対策の観点を中心に業界として様々な取組みを行ってきたが、臨床研究に関わる論文不正や不適切な医薬品広告の事例などを踏まえ、社会的に新たな対応が要請されている。このような中、2018年9月に当局より「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドライン」が公表されたことを踏まえ、2019年4月に「医療用医薬品製品情報概要等に関する作成要領」を改定、2019年9月に「製薬協コード・オブ・プラクティス」を改定することなどにより、同ガイドラインの会員会社への定着を推進しているところである。

また、これに関連して、企業の販売促進活動とは一線を画し、医療関係者に対する高度な科学情報の提供やエビデンス創出等を目的とするメディカルアフェアーズ（MA）やメディカル・サイエンス・リエゾン（MSL）の活動に関する業界としての基本的考え方を取りまとめ、2019年4月に公表した。さらに、2019年に医薬品評価委員会に設置したMA部会において、MA/MSL活動の基本的考え方の会員会社における定着、及びMA/MSL活動の標準化を目指した検討・提言活動を推進している。

#### 1.2 薬剤耐性（AMR）問題への取組み

抗菌薬の使用に伴って病原体が変化し、特定の種類の抗菌薬が効かなくなる薬剤耐性の発現は、世界的規模で深刻な社会問題となっており、このまま推移すると2050年には世界で1,000万人がAMRによる感染症で死亡するとのレポートも公表されている。この問題は医療だけではなく、畜水産などの分野にまたがり、また大半の死亡がアフリカ・アジア諸国で生じると予測されるなど国境を越える問題でもあることから、国を挙げて取り組むべき深刻な課題である。抗菌薬等を世に送り出す製薬企業の団体として、製薬協は抗菌薬の適正な使用方法の啓発活動等に2017年より積極的に取り組んでいるところであり、今般の新型コロナウイルス感染症の拡大を踏まえつつ、今後更なる取組みを強化していく。

##### 1.2.1 医療従事者への啓発活動

2017年にAMR啓発ポスターを作成し、製薬協会員会社への配布後、日本医師会、日本薬剤師会、日本保険薬局協会を通じて医療機関、薬局へのポスター配布を行った。また、2018年に動画を作成し、日本感染症学会、日本化学療法学会、くすりの適正使用協議会の協力を得て動画の閲覧機会拡大に取り組んだ。その他、各種イベントにおける啓発活動として展示等を継続的に行い、2019年11月に日本医師会との共催によりAMRセミナーを開催し、医療従事者を含む産官学の幅広いステークホルダーへの啓発活動を展開した。

##### 1.2.2 一般人へのAMRに対する意識調査の実施

AMR対策アクションプランにもあるように、抗菌薬適正使用の推進には抗菌薬を服用する患者側の意識も重要であることから、一般人（患者）への啓発とAMRに対する意識を把握する目的で、薬局（クオール株式会社協力）で製薬協作成動画閲覧後に3,000例超の意識調査を行い、その結果を日本感染症学会・日本化学療法学会の東日本地方会（2020年10月）で公表した。

また、毎年製薬協で実施している「くすりと製薬産業に関する生活者意識調査」の中に、2019年からAMRの認知程度と認識に関する調査項目を追加し、一般人の意識レベルをモニタリングしている。

### 1.2.3 一般人（若年層）への啓発活動

一般人へのAMRに対する意識調査の結果より、若年層（14歳以下）のAMR認知率が低いことが確認されたため、2020年7月より学研キッズネットの自由研究サイトを通じて小中学生を対象にしたAMR啓発活動を行っている。

## 1.3 革新的医薬品の最適使用の推進

革新的な新規作用機序を有する医薬品は、薬理や安全性プロファイルが既存の医薬品と明らかに異なることがある。したがって、有効性及び安全性に関する情報が十分蓄積するまでの間、当該医薬品の恩恵を強く受けることが期待される患者に対して使用するとともに、副作用が発現した際必要な対応を迅速にとることが可能な一定の要件を満たす医療機関で使用することが重要である。このような観点から、現在オプジーボ等10品目（再生医療等製品を含めると12品目）について策定されている革新的医薬品に係る最適使用推進ガイドラインについて、今後も行政当局に協力しつつ医療現場への普及啓発に努めていく。さらに、製薬企業としてもコンパニオン診断薬の開発など、最適使用を実現するための研究開発に一層注力していく。

一方、ガイドラインの対象となることにより、革新的医薬品へのアクセスが過度に阻害されることがないように留意する必要がある。最適使用推進ガイドラインは、承認後に蓄積されたエビデンスなど最新の科学的知見等に基づき改訂を行うこととされており、ガイドラインの改訂等の運用が適時・適切に行われるよう注視していく。

## 1.4 ポリファーマシー等への対応

「製薬協 政策提言 2019」において、「ポリファーマシーやいわゆる残薬問題に関して、国民の健康保持及び医療費効率化の観点から、必要な調査啓発活動を進める」としていたことを踏まえ、2019年3月より積極的な活動を推進してきた。以下に、これまでの主な推進状況と今後の取組みについて整理した。

### 1.4.1 国民・患者への普及啓発

厚生労働省は、高齢者の薬物療法に関する安全対策を推進する上で、必要となる事項について調査・検討することを目的に「高齢者医薬品適正使用検討会」を設置し、ポリファーマシーへの対応についても課題として取り上げ検討を進めてきた。同検討会は2018年5月に「高齢者の医薬品適正使用の指針（総論編）について」、2019年6月には「高齢者の医薬品適正使用の指針（各論編（療養環境別））について」を公表した。

2019年4月に開催された同検討会において、今後の事業として「国民向け啓発資料等の作成」が掲げられた。これに対し、製薬協はくすりの適正使用協議会と協力して当該事業を推進することについて厚生労働省の了承を得て、国民向け啓発資材「あなたのくすり いくつ飲んでいますか？」を作成し、2020年3月に配布を開始した。さらに、2020年10月に実施された「薬と健康の週間」に協賛するとともに、日本薬剤師会の協力を得て上述の国民向け啓発資材の普及を推進した。

#### 1.4.2 医療現場における多職種連携

ポリファーマシーの解消に向けては、医療現場における多職種連携が重要であるとの認識の下、2020年度診療報酬改定においては、入院時のポリファーマシーへの取組みを評価する「薬剤総合評価調整加算」が見直され、医師、薬剤師及び看護師等の多職種によるカンファレンスを実施することや、患者に対しポリファーマシーに関する一般的な注意の啓発を行うことなどが要件に盛り込まれた。また、調剤報酬改定においては、複数の医療機関を受診する患者の重複投薬の解消を推進する観点から、薬局において患者の服薬情報を一元的に把握し、重複投薬の有無の確認等を行った上で、処方医に重複投薬等の解消に係る提案を行う取組みへの評価として「服用薬剤調整支援料2」が新設された。このような背景を踏まえ、薬局・薬剤師関係団体（日本薬剤師会、日本保険薬局協会、日本病院薬剤師会、日本チェーンドラッグストア協会）の協力を得て、上述の国民向け啓発資材の普及を推進しているところである。今後は、他の職種との連携も含め、更なる普及促進策について検討を進めていく。

#### 1.4.3 保険者の取組み

後発品使用促進における差額通知の推進など、医療の適正化・効率化に向けた保険者の取組みが進められてきた。こうした中、2018年度より保険者（都道府県・市町村）における予防・健康づくり、医療費適正化等の取組み状況に応じて交付金を交付する保険者努力支援制度が実施されている。同制度においては、後発品の使用促進など複数の評価指標が定められているが、その中に重複・多剤投与者に対する取組み、すなわちポリファーマシーへの対応が指標の一つとなっている。これを受け、国民健康保険や後期高齢者医療制度の被保険者を対象とするポリファーマシー対策事業を展開している市町村が増えてきている。今後は、国民・患者への普及啓発に向け、市町村国保を中心とする保険者との連携についても検討を進めていく。

## 2 全世代型社会保障制度改革

### 2.1 医療提供体制

新型コロナウイルス感染症の拡大により、欧米の一部の国においては医療崩壊を招いた。一方、我が国では医療現場における医療従事者の方々により、医療崩壊回避に向けた懸命な努力が継続されているが、今後は平時より感染症対策も念頭においた医療提供体制の再構築が必要である。

また人生100年時代において、国民の健康意識や医療ニーズの変化、医師等の働き方改革への対応などを踏まえ、医療の質の向上と効率改善を図りつつ、疾病予防・早期対応から病気を抱えた後の地域での生活を支えるべく、地域医療の基盤の維持が求められている。

我が国では、歴史的な背景により民間中心の医療提供体制となっており、欧米諸国と比較して人口当たりの病床数が多く、CTなどの高度医療機器の設置台数も多いと指摘されている。現在、各都道府県で策定した地域医療構想に基づき、地域の医療関係者における協議を通じて病床の機能分化と連携の推進、効率的な医療提供体制の実現に向けた取組みが進められている。長期の医療需要の変化を見据えるとともに、今般の新型コロナウイルス感染症の拡大における経験を踏まえ、有事には必要な対策が機動的に講じられるよう、地域全体での医療提供体制の確保を目指すべきである。また適切な医療が迅速かつ確実に行えるよう、地域でデータ等を共有できる仕組みの構築を強力に推進すべきである。

外来医療においては、医療関係者の負担軽減や医療資源の有効活用の観点から「かかりつけ医」機能の強化、及び地域医療における外来機能の明確化・連携を引き続き推進すべきである。また今回の新型コロナウイルス感染症の拡大の中で、特例として活用されているオンライン診療について、その効果を検証しつつ、安全性・信頼性の担保を前提とし、デジタル時代に適合した仕組みの検討が必要である。あわせて「かかりつけ医」「かかりつけ薬剤師」を国民一人一人が持つことについて、強力に推進すべきである。

## 2.2 負担の見直し

高齢化に伴い医療費が増大を続ける中で、現在、医療保険における現役世代の自己負担は原則3割となっているのに対し、高齢者の負担割合は1割又は2割とバラつきがある。全世代型社会保障が志向される中で、医療保険制度を支える負担の面でも、世代間の公平性確保の観点から、所得水準や支払い能力に応じたものとなるよう、見直しが必要があることを指摘してきた。高齢者の負担割合については、全世代型社会保障検討会議等において検討が進められてきたが、課税所得が28万円以上かつ年収200万円以上（単身世帯の場合）の後期高齢者については窓口負担割合を2割とすることが2020年12月に閣議決定された。患者負担については、過度な受診抑制に繋がることがないように配慮しつつ、デジタル化の推進・マイナンバーカードの活用等により資産に応じた医療費の適正な負担割合への反映など、更なる見直しが必要である。

また、人生100年時代において社会保障の財源を安定的に確保し、国民が安心した生涯を送るためには、将来にわたる医療保険に係る財源の安定的な確保策が早急かつ真剣に検討されるべきである。

## 2.3 給付の重点化・効率化

### 2.3.1 保険給付の考え方

医療保険制度の安定的運営の観点からは、負担の見直しに併せて医療給付の重点・効率化も避けて通れない課題である。終末期医療の在り方のような国民的議論が必要なものから、医療機関における検査データの相互利用や病診の機能分担の徹底による効率化など、医療や医療体制そのものにまつわる制度的課題は多い。

同様に薬剤給付の重点・効率化についても、今後の議論の進展に応じ業界としても真摯に対応していく必要があるが、その際には、我が国の医療保険制度が、自分の健康は自分で守るとの大原則の上に立ちながら、避けられない国民の健康リスクを共同で負担しあうという趣旨に基づく仕組みであることに十分留意する必要がある。このような観点を踏まえれば、重篤な疾患に対する治療や高額な費用を要する治療は保険で給付すべきであり、大きなリスクに備えるという社会保険制度の重要な役割が果たされるべきである。

また、特許期間中あるいは再審査期間中の新薬については、イノベーションの推進や安全性確保といった観点も踏まえ、保険給付の対象とすることを堅持すべきである。一方、特許期間終了後の医薬品については引き続き保険給付とすることを原則としつつ、医療保険の持続性の観点から、安価な後発品使用を引き続き推進することや給付範囲の見直しについて検討を行う必要性は理解する。さらに、後発品使用促進策の一つとしてフォーミュラリ活用の検討が進められているが、フォーミュラリ策定に当たっては費用（コスト）面に偏ったものとならぬよう、科学的・医療的な観点からの検討が不可欠である。

### 2.3.2 予防・先制医療

発症前診断に基づく予防的な治療（先制医療）について、精度、効果、患者数等に  
応じ、予防接種（補助金）に準じる措置や保険外併用の可能性についても検討すべき  
である。特に、発症確率の高い疾病に対するものは、先制医療として保険給付に移行  
することについて検討を進めるべきであるが、保険給付の対象可否については、財源  
等の観点も踏まえ、①発症前診断の予見確度、②発症前診断の重要性（疾患重篤性や  
治療法の有無）を考慮すべきである。

### 2.3.3 デジタル医療（デジタルセラピューティクス：DTx）

2020年11月、我が国において初めて承認された治療アプリ（禁煙治療用アプリケ  
ーション）が保険適用されることとなった。今後、いわゆるデジタル医療（DTx）等  
の普及が見込まれている中、DTxの保険適用については、薬事承認に必要な臨床的ア  
ウトカムが立証されているものが償還対象になると理解されるが、保険点数につい  
ては立証したアウトカムの程度や疾患希少性、治療手段の少なさや既存治療との代替性  
等、総合的に勘案して設定すべきである。他方、DTxについては、様々なタイプや新  
たなアプローチによる治療が想定されることから、DTxの価値を適切に評価できる新  
たな保険償還の在り方についての検討も必要である。

### 2.3.4 上手な医療のかかり方

我が国において医療の危機と現場崩壊は深刻との認識の下、厚生労働省は2019年  
に「上手な医療のかかり方」プロジェクトを開始した。これは、医師の働き方改革を  
念頭に進められているものであるが、医療の効率化を図る観点からも、こうした国民  
の意識変革は必要である。

2020年12月に社会保障審議会医療保険部会が「議論の整理」を取りまとめたが、  
給付と負担の見直しに係る「薬剤自己負担の引上げ」の項において、「医療資源の効率  
的な活用を図る観点から、かかりつけ医やかかりつけ薬剤師と連携しつつ、保険者の  
立場からも上手な医療のかかり方とセルフメディケーションの推進策を講じるべき  
である」との記載が盛り込まれた。製薬協は上手な医療のかかり方プロジェクトの検  
討内容に賛同し、「ポリファーマシーへの対応」を通じた活動を推進しているが、今後  
は保険者との連携についても検討を進めていく。また、セルフメディケーションの推  
進については、患者・国民にとって信頼できる医療情報へのアクセス確保が極めて重  
要であることから、信頼できる情報提供に資する方策について検討する。なお、いず  
れの施策を進めるにしても、国民一人一人がかかりつけ医を持つことが前提である。

## 2.4 「支える側」と「支えられる側」のバランス

全世代型社会保障制度改革の検討に当たっては、①持続可能な社会保障制度の構築  
と持続的な経済成長の両立に向け、より長期的な視点での改革となること、②超高齢  
社会における社会保障のあるべき姿、ビジョンを示した上で、国民的議論が喚起され  
ること、③社会保障の「支える側」を増やすことに資する施策について、幅広く検討  
が進められること、といった視点が必要であると指摘してきた。特に、超高齢社会に  
おいては、「支える側」と「支えられる側」のリバランスや特定の生き方や働き方が不  
利にならない「選択を支える社会保障」という考え方が重要であり、65歳以上であ  
っても就労する意思がある高齢者が「支える側」となることが社会保障の持続性には欠  
かせないものといえる。高齢者であっても、心身の不安を抱かず健康に働くことがで

きるために、医薬品が貢献する余地は多く、このような社会保障の持続性に寄与する医薬品の価値は一定の評価がなされるべきである。

人生 100 年時代といわれる中、各ライフステージで問題となる様々な疾患がある。製薬産業としては、依然として人類の生命と健康にとって重大な問題であるがんや難病に対する治療薬はもちろん、認知症や希少疾患などにも取り組み、各ライフステージに応じた革新的な医薬品を創生することで、健康寿命の延伸に貢献し、支え手を増やすことに繋げていかななくてはならない。また、個別の疾患ステージにおいても、発症後の治療薬のみに焦点をあてるのではなく、発症前の予防・先制医療から、治療予後における QOL 改善や社会復帰までを見据えた創薬に取り組むことで、全世代型社会保障に貢献していく必要がある。

### 3 イノベーションの評価

#### 3.1 医薬品市場を取り巻く環境

##### 3.1.1 国民医療費の増大

人口の高齢化や医療技術の高度化に伴い、国民医療費は増加している。2019 年度の概算医療費（国民医療費の約 98%に相当）は前年度に比べて約 1 兆円増え 43.6 兆円となった。2022 年は団塊の世代が 75 歳を超えて後期高齢者に到達する最初の年であり、団塊の世代全てが 75 歳以上となる 2025 年に向けて医療費はさらに増加することが予想される。

##### 3.1.2 新型コロナウイルス感染症の拡大による経済・財政の悪化

日本経済は、新型コロナウイルス感染症の影響で、歴史的な落ち込みを記録した。新型コロナウイルス感染症対策として財政出動への圧力が強まる中、2021 年度予算案の総額は 3 年連続で 100 兆円を突破し、過去最大の 106 兆 6,097 億円となった。

##### 3.1.3 中間年薬価改定（2021 年度）の影響

2020 年 12 月 17 日、中間年薬価改定の実施とその内容が大臣折衝により決定した。全品目の平均乖離率は 8.0%であったが、改定の対象は乖離率 5%超の品目とされ、全品目の約 7 割に及んだ。また新型コロナウイルス感染症の影響への措置は 2018 年薬価調査結果と本年結果の差 0.8%の調整幅（2%）への追加に留まり、中間年改定の影響は全品目改定した場合の削減額である 4,900 億円の約 9 割（約 4,300 億円）にも及んだ。

中間年改定の対象範囲は、2016 年 12 月の四大臣合意「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」に「価格乖離の大きな品目」と記され、2020 年 7 月「骨太方針 2020」においては、「骨太方針 2018 等の内容に新型コロナウイルス感染症による影響も勘案して、十分に検討し、決定する。」とされていたにも拘わらず、その趣旨とは大きく逸脱する結果となった。薬価乖離の大きい品目の定義をはじめとする中間年改定の対象範囲が中央社会保険医療協議会（中医協）で十分に議論されていないことを含め、薬価制度の予見性を著しく毀損するものであり到底容認できるものではない。また、「国民負担の軽減」と「医療の質の向上」を両立する観点から著しくバランスを欠く決定と認識しており、国民の革新的医薬品へのアクセスに甚大な影響を及ぼす結果になったと言わざるを得ない。

## 3.2 新薬の評価体系の見直し

### 3.2.1 医薬品の多様な価値の評価

我が国では少子高齢化に伴う生産年齢人口の減少により社会保障制度の「支える側」の減少が続いている。そのような中で社会保障制度を持続させていくためには、「支える側」を増やし、給付と負担のバランスをとっていく必要があり、医薬品には健康寿命を延伸させることでそれに貢献することが期待されている。

一方で、医薬品の価値評価は、新規性、有効性・安全性、治療法の改善、利便性といった医療的視点を基に行われており、医療的視点の延長線上にある、患者本人の生産性損失の改善、患者家族の負担軽減による社会復帰等を通じて「支える側」を増やすという社会保障の持続性の視点からの評価は不十分な現状にある。

科学技術の進展によって革新的医薬品が今後も登場することが想定される状況下で、医薬品の持つ多様な価値が我が国の医療保険制度の中で適切に評価される仕組みとすべきであり、その実現に向けて、関連するステークホルダーとの議論を醸成していくことが必要である。

### 3.2.2 類似薬選定の基準見直し

原価計算方式において、製品総原価の開示度が低い品目が多いことに対する批判が高まっている。医薬品総原価の開示度向上への取組みは必要である一方、企業の取引や製造・輸入形態等の個々の品目の事情により、開示度向上には一定程度限界がある。また、そもそも原価計算方式のような製造原価や研究開発費等のコストの積み上げによって価格を設定する方法では、必ずしも医薬品の価値を十分に反映できないという側面もある。

このような中、薬価算定の透明性・納得性を高めるという観点から、類似薬選定に係る基準については、現行の4つの類似薬選定基準に加え、臨床的位置づけ等の医療実態を含めて総合的に勘案することができるものとするなど、類似薬の対象を拡大し、より適切な類似薬を選定した上で類似薬効比較方式による算定が可能となる仕組みの検討が必要である。

### 3.2.3 薬価収載後のイノベーション評価

医薬品は、効能追加や市販後に得られるエビデンス等により収載後に当該新薬の価値が高まる場合がある。一方、現行の薬価制度においては、薬価収載時に新薬の革新性・有用性等に基づき評価を行う仕組みはあるものの、収載後の医薬品の価値の変化に基づき評価を行う仕組みは限定的である。

収載後における医薬品の価値の変化を踏まえ、収載時薬価の妥当性を再度評価する仕組みがなければ、本来、評価されるべき真の革新性・有用性を適切に薬価に反映させることはできない。そのため、収載後一定期間後に医薬品の価値を評価し、改めて薬価算定を行う仕組みが必要である。

## 3.3 新薬の評価プロセスの改善

現行の薬価基準制度は明文化されたルールであるが、複数の調整ルールや特例ルール等があるため分かりづらく、新薬の薬価の予見性を低下させている。また、薬価の算定結果は中医協にて公表されるが、その結果に至るまでの算定プロセスが透明性に欠け、ブラックボックス化されているとの指摘を受け、現在薬価算定組織の議事録の開示に向けて検討が行われている。

医薬品の多様な価値を適切に評価するためには、医薬品を創出した企業がその価値を主体的に説明し、独立した第三者機関においてその妥当性を評価するプロセスが必要である。第三者機関が医薬品の価値を客観的に評価・記載した評価報告書（仮称）を作成し公開することで、国民からの納得性・透明性を向上させることが可能になる。

### 3.4 我が国の医薬品市場とイノベーションへのアクセス

2010年の新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）の試行的導入等イノベーションを促進するための制度の拡充により、我が国のドラッグラグは大きく改善された。しかしながら、2018年の抜本改革における新薬創出等加算の対象品目の絞り込みや企業要件の見直し、さらには市場拡大再算定の拡充等によりイノベーションの促進は後退した。加えて、中間年改定は薬価乖離が平均乖離率を下回る品目も対象となるなど制度の予見性は大きく低下した。

また、日本の人口は2008年頃から減少に転じていることに加え、2018年の抜本改革、中間年改定をはじめ薬価の引下げ強化等もあり、我が国の医薬品市場は先進国の中で最も低い成長率となっており、今後は横ばいまたはマイナス成長との予測もある。一方で医薬品の安定供給は製薬産業の責務であり、必須医薬品の備蓄や国産化のための費用は確保しなければならない。そのような状況下でもイノベーションの推進が継続し、製薬産業が成長産業の一つとして日本経済を牽引するためには、少なくとも新薬市場は海外に比して見劣りせず魅力あるものでなければならない。

我々はイノベーションの成果である革新的医薬品を一日でも早く国民に届けるという使命に忠実にいかなければならない。そのためには、生み出されたイノベーションが適正に評価され、次なるイノベーションが促進される、予見性・透明性の高い薬価制度の実現が必須である。



製薬協

## 日本製薬工業協会

〒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ディング

TEL, 03-3214-0326 FAX, 03-3241-1767

<http://www.jpma.or.jp>

2021年2月作成