

陳 述

3. 日米欧 3 団体の追加調査結果



中央社会保険医療協議会
薬価専門部会 意見陳述資料

2024年度薬価制度改革による 企業の開発動向の変化について (追加調査結果)

2025年7月9日

日本製薬工業協会
米国研究製薬工業協会
欧州製薬団体連合会

1

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

おはようございます。日本製薬工業協会の会長を務めます宮柱と申します。どうぞよろしくお願いいたします。資料3をご覧ください。まずは3団体、日本製薬工業協会、米国研究製薬工業協会、そして欧州製薬団体連合会を代表しまして、2024年度薬価制度改革が企業の開発動向に与えた影響について、ご説明をさせていただきます。

本調査は、昨年10月に実施しました調査の継続として、制度改革後の実際の企業行動の変化を把握することを目的に行っております。本日は、その中でも特に重要な変化について、6枚のスライドでご説明をさせていただきます。

今回調査の概要

2024年度薬価制度改革による企業の開発動向の変化について <前回(2024年10月調査)からの継続調査>

調査実施機関	製薬協、PhRMA、EFPIA（合同で実施）
調査実施時期	2025年6月
調査の概要	<ul style="list-style-type: none"> 2024年度薬価制度改革によって、日本国内における医薬品開発が前向きに変容された事例の提供を求めた。 （前回調査(2024年10月実施/同年12月中医協薬価専門部会で報告)で回答のあった事例のフォローアップおよび前回調査以降新たに生じた事例の提供） 前回調査においては、制度改革を反映させた社内検討体制やプロセスの見直し事例の提供も受けたが、今回調査では、個別の製品開発に関するエピソードに絞って調査を行った。
調査対象企業	製薬協、PhRMA、EFPIA加盟企業のうち35社（前回調査に同じ） （内資系10社、外資系25社）

2

2枚目、ご覧ください。まず、今回の調査概要です。

本調査は2024年度薬価制度改革が企業の開発戦略に与えた影響を把握するため、昨年10月の調査に続いて実施したものです。

前回調査では、制度改革を受けて、企業内での開発体制、プロセスの見直しが進んでいることを確認しました。

今回の調査では、そうした意向変化が実際の開発行動にどのように結びついているのかを明らかにすることを目的としております。

3枚目、よろしくお願いいたします。

エグゼクティブ・サマリー

前回調査/今回調査にて確認された事項

前回調査にて確認された事項 (2024年10月実施)

<2024年12月11日中医協薬価専門部会で報告>

- 2024年度薬価制度改革によって、以下のような日本国内での開発を推進しようとする意思変化が起きていることが確認された。

開発計画フェーズ

- Ⅰ 社内における開発品目の検討体制やプロセスの見直し
- Ⅱ 個々の製品の開発計画の再検討
- Ⅲ 製品の国内開発を決定するに至った

- しかしながらこの時点においては、治験実施に向けてPMDAとの相談をすでに開始していたり、治験の着手まで至っている製品までは確認されなかった。

今回調査にて新たに確認された事項 (2025年6月実施)

- その後、実際に国内開発を進める行動変容が進んできていることが確認された。具体的には、対外的なアクションを伴う以下のような動きのある製品が多く出てきている。

(前回調査では、そうした事例の存在は確認されず)

治験実施フェーズ

- Ⅳ 治験内容等についてPMDAに相談を実施
- Ⅴ 治験に着手

- 2024年度薬価制度改革によって促進された国内開発の内容は以下のように大分された。

- ① 国内での開発時期・申請予定時期の前倒し
- ② 国内小児開発の新たな開発
- ③ 国内での新たな成分・適応症の開発

3

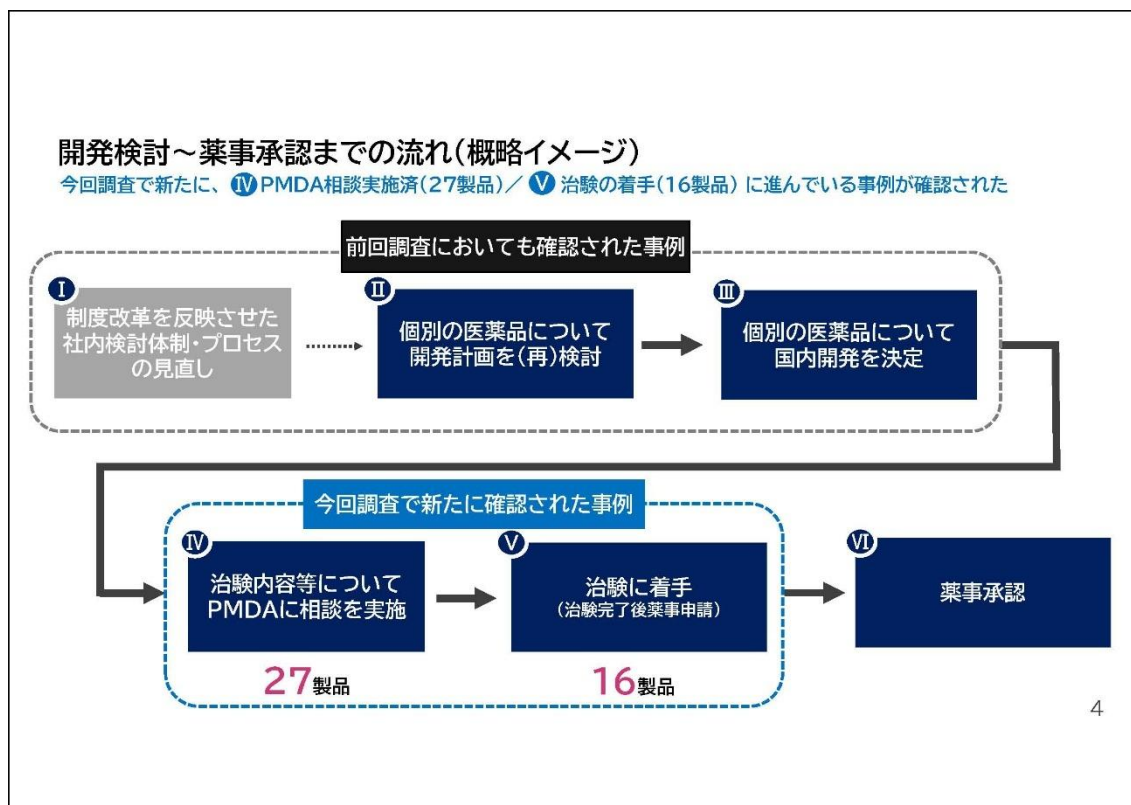
こちらのスライドでは、前回と今回の調査で確認された主な変化をまとめております。

前回調査では、制度改革を受けて、国内での製品開発に対する社内の検討体制プロセスの見直し、過去に開発を検討したが、事業性等の理由から開発の決定に至らなかった製品の開発の再検討などが行われていることが確認されました。

また、既に製品の国内開発の決定にまで至った事例があることとの報告もございました。

右側は今回の調査ですが、さらに前進し、社内で開発の意思決定をしたばかりではなく、その後、PMDAと開発に関する具体的な相談を行ったり、あるいは既に治験を着手するなど、薬価制度改革を受けて、目に見える形で国内開発の活動が進められていることが明らかとなりました。

4枚目をお願いいたします。



このスライドは、開発検討から薬事承認までの流れをイメージでお示したものです。

先ほどご説明しましたように、今回の調査では、前回調査では確認されませんでした、下段にございますⅣ、Ⅴに進んでおる事例が新たに報告をされました。

Ⅳ、現段階にて治験着手までには至っていないが、治験内容等についてPMDAに相談をするステージにまで進んだものが27製品。

またⅤ、既に治験に着手の段階のものが16製品でございました。

24年の制度改革の内容を企業が前向きに受け止め、改革から1年余りの間にドラッグラグ・ロス解消に向けて、目に見える具体的な開発活動が進んでおることが確認されました。これらはイノベーションを評価する姿勢を示した制度改革が日本国内での企業の開発の判断・活動にポジティブな影響を与えたものを裏付ける重要な情報というふうに捉えております。

(参考)2024年12月中医協での報告資料

開発計画・意思決定の変容の具体的事例		
● 今回の制度改革による、開発品目の検討体制・意思決定のプロセスの見直しや、個別の医薬品の開発計画への影響について、以下の事例等を確認した		
I 制度改革を反映させた社内検討体制・プロセスの見直し	II 個別の医薬品について開発計画を再検討	III 個別の医薬品について国内開発を決定
<p>① 早期上市に向けたルール・体制整備</p> <ul style="list-style-type: none"> 優先審査の対象となることが見込まれる製品を中心に、「欧米から6か月以内の国内申請・承認を目指して開発計画を検討する」ことを標準化した。 <p>② 小児開発の積極的検討のルール化</p> <ul style="list-style-type: none"> 開発検討においては、「成人と小児の同時開発を検討する」ことをデフォルトとしてルール化した。 <p>③ 過去に開発を見送った製品の再検討</p> <ul style="list-style-type: none"> 全品を対象に、申請時期の前倒しや小児開発の可能性を年次で再検討する社内フローを導入した。 	<p>① 申請・上市時期の前倒しの検討</p> <ul style="list-style-type: none"> 迅速導入加算の導入を、グローバル本社が非常に前向きに受け止めている。そのため、国内申請時期の前倒しを目指して、日本に対して優先的にリソース配分をすること等をグローバル本社と共に検討している。 <p>② 小児開発の検討</p> <ul style="list-style-type: none"> 小児用医薬品に対する評価の充実を受け、小児適応の取得可能性と事業性を確認した。その結果、「グローバルの開発委員会において、日本での開発に関する審議を実施予定」となった。 	<p>① 開発予定がなかった製品の開発決定</p> <ul style="list-style-type: none"> 薬事制度改革、および迅速導入加算、新薬創出等加算の適用がグローバルのトップマネジメントの意思決定を後押しし、国内開発の実施を決定した。 <p>② 外国企業からの国内導入契約を締結</p> <ul style="list-style-type: none"> 国内開発に係る期間・費用および事業性の見極めに時間を要していた。今回、薬事制度改革・希少疾病加算の加算率付与の考え方および新薬創出等加算の基準改正により、事業性試算が向上し、導入の意思決定を後押しし、導入契約の締結に至った。 <p>③ 国内小児適応の開発実施を決定</p> <ul style="list-style-type: none"> 小児がんの国内治験実施の困難さ、事業性等を踏まえ、小児開発までは検討しないこととされていた。今回、小児用医薬品に対する評価の充実により、事業性の改善を確認することができたため、グローバル本社への交渉・協力を実現し、小児適応の開発を決定、PMDA相談の実施を予定している。

5

5 ページ目をお願いいたします。

ここから先は、回答があった具体的事例をご紹介します。

こちらは、前回調査について昨年 12 月の中医協で報告した資料の再掲となります。

時間の関係上、詳細は割愛させていただきます。

6 ページ目、お願いいたします。

開発動向の変化の具体的事例

前回調査では報告されなかった、「PMDAへの相談実施」や「治験着手」に進んだ事例を確認した

IV 治験内容等について PMDAに相談を実施	V 治験に着手 (→appendixに具体的事例を全件詳記)
<p>①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓迅速導入加算の導入により、国内開発を決定し、欧米から6か月以内の申請に向けてPMDA相談を実施した。 ✓薬事制度改革に加え、迅速導入加算の導入によって、国内開発を決定。国内開発を日本からグローバルの第3相試験に参加する形でPMDAと相談実施。 <p>②国内での小児開発の新たな実施</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓日本から海外実施予定の試験に参加する方向で検討し、国際共同小児試験に日本が参加する内容のPMDA相談を実施済み。 ✓小児開発の事業性の限界から本製品の国内小児開発は検討しない方針であったが、制度改革を受けて国内開発を行う方針に転換することでグローバル本社と合意。国内独自の開発計画を策定。 	<p>①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓迅速導入加算の導入を受け、グローバル本社と協議の上で、グローバル本社のサポートや日本法人におけるリソースを確保。当初の国内申請予定時期を前倒しする形で、国内承認申請を実施した。 ✓小児用医薬品に対する評価の充実を受け、グローバル本社と開発期間短縮の方法を協議し、日本も参加する小児の国際共同治験への患者組入れを当初予定より11ヶ月前倒しで終了し、現在試験継続中。 <p>②国内での小児開発の新たな実施</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓薬価制度改革により、日本でも積極的に成人の試験に12歳以上の小児患者を含める検討を実施、開発計画を社内で合意。治験を開始済。 <p>③国内での新たな成分・適応症の開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓買収時点において日本での開発が計画されていなかったが、薬事制度改革や迅速導入加算の導入（新薬創出等加算の適用含む）が、グローバルの意思決定を後押し、PMDA相談を完了し、国内治験を開始済。

6

このページでは、今回の調査で確認された変化の具体的事例のうち、先ほど申し上げたIVとVの事例の要旨を抜粋してお示ししております。

スライド左側が、現時点までにPMDAとの相談にまで至っている事例、右側が治験に着手した事例でございます。

詳細には触れませんが、日本での開発申請時期の前倒し、小児適応の新規開発、あるいは新たな成分・適応症の開発など、制度改革が我が国におけるドラッグラグ・ロスの解消につながる変化をもたらしていることが今回、明らかになったものと考えております。

私どもは、今後も薬価制度改革が開発に与える影響について把握を行い、患者さんに必要な医薬品が確実に届く環境づくりにつながるよう、建設的な議論を重ねてまいりたいと存じます。