

# 国立国会図書館 調査及び立法考査局

Research and Legislative Reference Bureau  
National Diet Library

論題 Title	ドラッグ・ロスの現状及び対策
他言語論題 Title in other language	Current Issues and Countermeasures for Drug Loss
著者 / 所属 Author(s)	鈴木 智之 (SUZUKI Tomoyuki) / 国立国会図書館調査及び立法考査局主任調査員 社会労働調査室
雑誌名 Journal	レファレンス (The Reference)
編集 Editor	国立国会図書館 調査及び立法考査局
発行 Publisher	国立国会図書館
通号 Number	891
刊行日 Issue Date	2025-03-20
ページ Pages	89-118
ISSN	0034-2912
本文の言語 Language	日本語 (Japanese)
摘要 Abstract	近年、海外での既承認薬が日本において開発に着手されていない「ドラッグ・ロス」の問題に懸念が高まっている。本稿では、ドラッグ・ロスの現状、原因、政府による対策を概観する。

\* この記事は、調査及び立法考査局内において、国政審議に係る有用性、記述の中立性、客観性及び正確性、論旨の明晰（めいせき）性等の観点からの審査を経たものです。

\* 本文中の意見にわたる部分は、筆者の個人的見解です。

# ドラッグ・ロスの現状及び対策

国立国会図書館 調査及び立法考査局  
主任調査員 社会労働調査室 鈴木 智之

## 目 次

はじめに

- I ドラッグ・ラグ及びドラッグ・ロスの現状
    - 1 ドラッグ・ラグの現状
    - 2 ドラッグ・ロスの現状
    - 3 ドラッグ・ロスが生じている医薬品の特徴
  - II ドラッグ・ロスの要因
    - 1 海外の創薬における新興企業の台頭
    - 2 希少疾病用医薬品の開発に係る問題
    - 3 小児用医薬品の開発に係る問題
    - 4 国際共同治験に関する問題
    - 5 薬価制度の問題
    - 6 日本企業の国際競争力の低下
  - III 政府による対策（1）海外の製薬企業を日本市場に呼び込むための施策
    - 1 「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」における検討
    - 2 薬事規制の在り方に関する検討
    - 3 PMDA におけるドラッグ・ロス対策の取組
    - 4 薬価制度改革における検討
    - 5 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」における検討
    - 6 医薬品医療機器等法の改正の検討
  - IV 政府による対策（2）日本の製薬企業の創薬力を強化するための施策
- おわりに

キーワード：ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロス、製薬企業

## 要 旨

- ① 近年、海外での既承認薬が日本において開発にすら着手されていない「ドラッグ・ロス」の問題が深刻化している。2016年から2020年にかけて欧米で承認された新有効成分含有医薬品222品目のうち、2022年末時点で日本において承認されていない医薬品は143品目あり、このうち国内で開発が未着手となっている医薬品は86品目（60.1%）に上るとされる。ドラッグ・ロスが生じているのは、欧米の新興企業が開発した医薬品、希少疾病用医薬品、小児用医薬品などである。
- ② ドラッグ・ロスが生じている主な原因として、米国における新薬開発の対象が生活習慣病から希少疾病へとシフトしたことや、新薬開発が新興バイオ医薬品企業を中心に行われていることが挙げられる。新興企業は一般に小規模であり、米国内でのみ開発を行う場合が多い。また、日本における治験制度や薬価制度が理解しにくく、収益性も乏しいため、日本で開発を行うことに消極的であるとされる。
- ③ 加えて、日本国内の製薬企業においてはイノベーションの欠如が問題となっており、アカデミア・スタートアップ・製薬企業などが有機的に連携する「創薬エコシステム」が構築されていないことなどから、新しい製造技術による新薬開発が困難な状況にある。
- ④ 厚生労働省は、令和4（2022）年8月に「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」を立ち上げ、ドラッグ・ロス対策の方向性を取りまとめた。また、令和5（2023）年7月からは「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」が薬事規制の見直しを行い、多くが実施された。
- ⑤ 内閣官房も、令和5（2023）年12月に「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」を設置し、令和6（2024）年5月に「中間とりまとめ」を行った。同会議ではドラッグ・ロスの解消及び日本の創薬力の強化についての施策を打ち出しており、政府はこの中間とりまとめを踏まえ、同年7月に具体的な政策目標と工程表を掲げている。
- ⑥ 政府は目標の実現に向けて令和7（2025）年度に官民協議会を設置することとしており、ドラッグ・ロスの解消に向けた創薬エコシステムの構築の動向が注目される。

## はじめに

海外で使用できる医薬品が日本で薬事承認され、使用できるようになるまでに長い時間を要する、いわゆるドラッグ・ラグの問題には、2つの側面があるとされる。1つは、海外での既承認薬が日本国内でも発売されているが、発売までの期間が他国と比べて長いとされる遅延（ラグ）の問題であり、もう1つは、海外での既承認薬が日本において開発未着手のままとなっている問題である<sup>(1)</sup>。本稿においては、前者を狭義のドラッグ・ラグ、後者をドラッグ・ロスの問題として区別する。

そのうち、狭義のドラッグ・ラグについては改善に向けた取組の成果が表れつつあるのに対し、ドラッグ・ロスの問題については、近年懸念が高まりつつある。

国内未承認の医薬品は個人で輸入しなければならず、その費用は個人負担となる。病院で未承認薬を用いた治療を受ければ、他の薬剤費、診察料、検査料も含め保険請求ができず、治療に要した全費用を自己負担しなければならない場合もある。また、未承認薬を使用して副作用が生じて、国の医薬品副作用被害救済制度の適用を受けることができない<sup>(2)</sup>。ドラッグ・ロスが生じている医薬品は、日本国内において永久に開発、承認されず、国内患者や家族に多大な負担を強い続ける可能性をはらんでいる。

本稿では、ドラッグ・ロスの推移及び現状、ドラッグ・ロスの要因、政府によるドラッグ・ロス対策について概観する。

## I ドラッグ・ラグ及びドラッグ・ロスの現状

本章では、まず狭義のドラッグ・ラグの現状について簡単に述べ、次いでドラッグ・ロスの近年の状況及びドラッグ・ロスが生じている医薬品の特徴について概観する。

### 1 ドラッグ・ラグの現状

ドラッグ・ロスの実態について述べる前に、まずドラッグ・ラグの現状について簡単に触れておきたい。ドラッグ・ラグは2000年代に着目され始めた問題である。医薬産業政策研究所<sup>(3)</sup>は、2004年における世界売上上位88製品について、世界初上市から各国での上市までの平均期間を報告し、アメリカでの上市までの平均期間が16.8か月であるのに対し、日本での上市までの期間は47.2か月であり、長いタイムラグが存在することを指摘した<sup>(4)</sup>。

その後、政府及び製薬企業は、日本を含む国際共同治験の増加、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）による審査期間の短縮、新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度の創設<sup>(5)</sup>

\*本稿におけるインターネット情報の最終アクセス日は令和7（2025）年2月12日である。

(1) 「くすりの情報 Q&A Q39.「ドラッグ・ラグ」とはなんですか。国と製薬産業は、どのような取り組みをおこなっていますか。」日本製薬工業協会ウェブサイト <[https://www.jpma.or.jp/about\\_medicine/guide/med\\_qa/q39.html](https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/med_qa/q39.html)>

(2) 「くすりの情報 Q&A Q52. 製薬産業は「未承認薬（みしょうにんやく）」に、どのように取り組んでいますか。」日本製薬工業協会ウェブサイト <[https://www.jpma.or.jp/about\\_medicine/guide/med\\_qa/q52.html](https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/med_qa/q52.html)>

(3) 平成11（1999）年1月、日本製薬工業協会の下に設置された研究機関。製薬産業を取り巻く環境及び製薬産業の中長期的な課題について分析検討し、提言を行う。

(4) 福原浩行「新薬へのアクセスにみる日本の課題—各国間における上市までのタイムラグ—」『政策研ニュース』No.18, 2005.10. <<https://www.jpma.or.jp/opir/news/pb1snq0000003cvy-att/news-18.pdf>>

(5) 革新的な医薬品や、適応外薬（日本で承認されているが、海外で承認されている使用法が認められていない医薬品）・未承認薬の開発を促進することを目的として、2010年に導入された制度。厚生労働省から開発要請・公募された品目の開発に取り組む製薬企業が製造販売する新薬に対し、市場実勢価格に基づく薬価の引下げが猶予される。

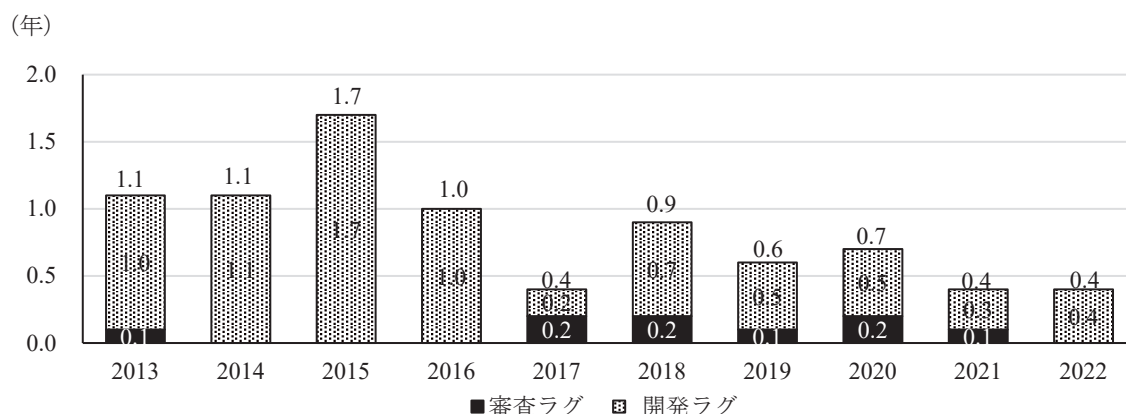
など、ドラッグ・ラグの解消に向けた一連の施策を実施してきた<sup>(6)</sup>。

医薬産業政策研究所による近年の調査を基にドラッグ・ラグの近年の状況を見ると、日本において平成 25（2013）年から令和 4（2022）年までに新有効成分含有医薬品（New Molecular Entity: NME）<sup>(7)</sup>として承認された医薬品 424 品目のうち、他国に遅れて承認された医薬品は 301 品目であって、全体の 71% に上り、ラグが認められる品目は依然として少なくない<sup>(8)</sup>。

ただし、平成 25（2013）年から平成 28（2016）年までのドラッグ・ラグの中央値は 30 か月以上に及んだのに対し、平成 29（2017）年以降はおおむね 20 か月台となり、令和 4（2022）年においては 16.4 か月にまで短縮されている<sup>(9)</sup>。また、ラグが 36 か月以上の長期にわたる品目に着目すると、2013 年から 2014 年までの承認薬においては中央値が 103.9 か月であったのに対し、2021 年から 2022 年にかけては 53.8 か月と、ほぼ半減している<sup>(10)</sup>。これらの現状から、ドラッグ・ラグはなお取り組むべき課題ではあるものの<sup>(11)</sup>、その期間はここ 10 年間で改善に向かっていくとされる<sup>(12)</sup>。また、2022 年に承認された NME の審査期間の中央値は、日本が 10.8 か月、アメリカが 11.0 か月、欧州は 14.0 か月であることから<sup>(13)</sup>、審査におけるラグは解消し、ドラッグ・ラグは開発によるラグであると考えられる。

また、PMDA が毎年発表している「ドラッグ・ラグの試算」においても、図 1 に示すとおり、ドラッグ・ラグは短縮傾向にある<sup>(14)</sup>。

図 1 PMDA によるドラッグ・ラグの試算（2013～2022 年度）



(注) 開発ラグは、当該年度に国内で新規承認申請された新薬について、アメリカにおける申請時期との差の中央値。審査ラグは、当該年度（アメリカは暦年）における日米間の新規承認された新薬の総審査期間（中央値）の差。ドラッグ・ラグは開発ラグと審査ラグの和。

(出典) 「ドラッグ・ラグの試算 [平成 25 年度から平成 29 年度]」PMDA ウェブサイト <<https://www.pmda.go.jp/files/000227686.pdf>>; 「ドラッグ・ラグの試算 [平成 30 年度から令和 4 年度]」同 <<https://www.pmda.go.jp/files/000265986.pdf>> を基に筆者作成。

(6) 澁口朋之「ドラッグ・ラグ：国内 NME 承認品目の上市状況—米国・欧州との上市時期比較—」『政策研ニュース』No.63, 2021.7, pp.74-75. <<https://www.jpma.or.jp/opir/news/063/pdf/pdf-09-01.pdf>>

(7) 日本の場合、新有効成分含有医薬品とは、既に製造販売の承認を与えられている医薬品及び日本薬局方に定められている医薬品のいずれにも有効成分として含有されていない成分を有効成分として含有する医薬品を指す。

(8) 東宏「ドラッグ・ラグ：日本承認品のラグ実態の分析」『政策研ニュース』No.70, 2023.11, p.55. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/070/k9rmj200000006ob-att/70\\_5.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/070/k9rmj200000006ob-att/70_5.pdf)>

(9) 同上, p.56.

(10) 同上, p.57.

(11) 同上, p.61.

(12) 同上, pp.56-57.

(13) 吉浦知絵・東宏「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較」『政策研ニュース』No.70, 2023.11, pp.66-68. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/070/k9rmj200000006ro-att/70\\_6.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/070/k9rmj200000006ro-att/70_6.pdf)>

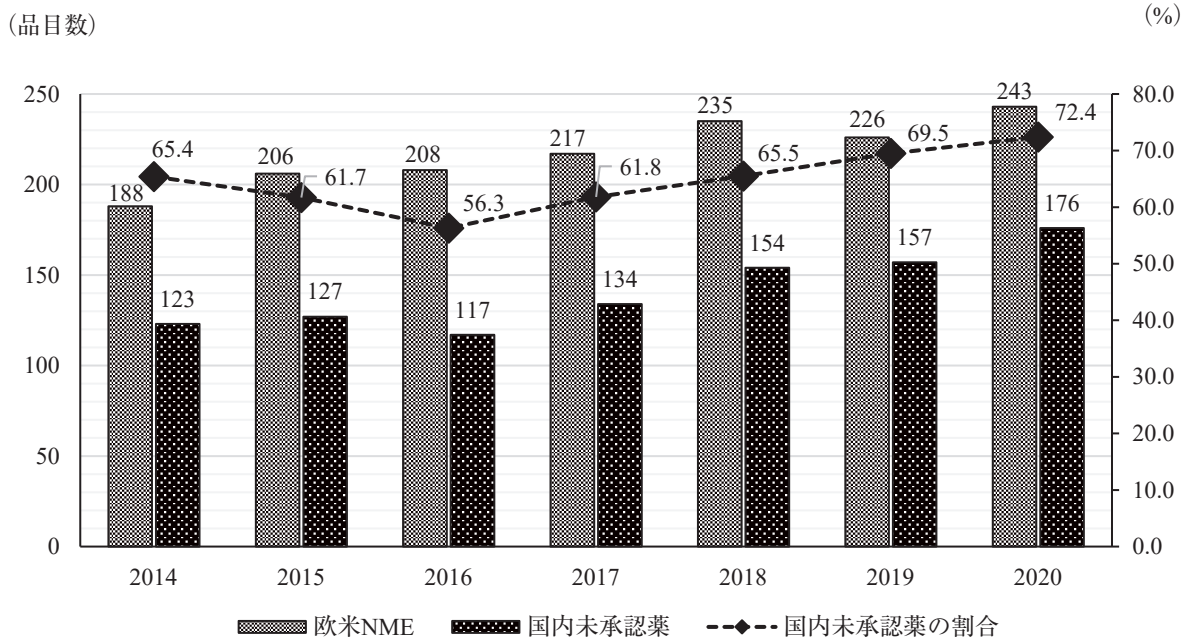
(14) 「ドラッグ・ラグの試算 [平成 25 年度から平成 29 年度]」PMDA ウェブサイト <<https://www.pmda.go.jp/files/000227686.pdf>>; 「ドラッグ・ラグの試算 [平成 30 年度から令和 4 年度]」同 <<https://www.pmda.go.jp/files/000265986.pdf>>

## 2 ドラッグ・ロスの現状

日本においてドラッグ・ロスの問題が本格的な議論の対象となったのは、令和2（2020）年頃からである。令和2（2020）年10月、PMDAの藤原康弘理事長は厚生労働省の医薬品開発協議会において、日本法人や国内管理人を持たない新興バイオ医薬品企業（Emerging Biopharma: EBP）が多くの抗がん剤開発を担っており、日本で開発を行っていない実態があることを指摘し、これらの企業が臨床試験・臨床開発を行うための環境整備の必要性を訴えた<sup>(15)</sup>。令和3（2021）年7月には、医薬産業政策研究所が国内未承認薬の状況及び特徴に係る調査結果を発表し、2010年代後半以降に国内未承認薬数の増加傾向が見られることなどを明らかにした<sup>(16)</sup>。以下、これまでに発表された調査結果を基に、ドラッグ・ロスがいつ頃から発生し、どの程度の規模に及んでいるのかを概観する。

医薬産業政策研究所の調査によれば、2014年から2020年にかけて欧米で承認されたNMEのうち、日本で未承認の医薬品の割合は、図2に示すとおり、2016年以降に増加しつつある<sup>(17)</sup>。

図2 欧米のNME数のうち日本における未承認薬数及びその割合（2014～2020年）



(注) 各年における欧米NME数及び国内未承認薬数は、直近5年分を合計した数値である。

(出典) 吉田昌生「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, 2021.7, p.63. <<https://www.jpma.or.jp/opir/news/063/pdf/pdf-08-01.pdf>> を基に作成。

医薬産業政策研究所が作成し、厚生労働省が集計した調査結果によれば、2016年から2020年にかけて欧米で承認されたNME222品目（アメリカ136品目、欧州86品目）のうち、2022年末時点で日本において承認されていない医薬品は143品目（64.4%）ある。このうち、2023

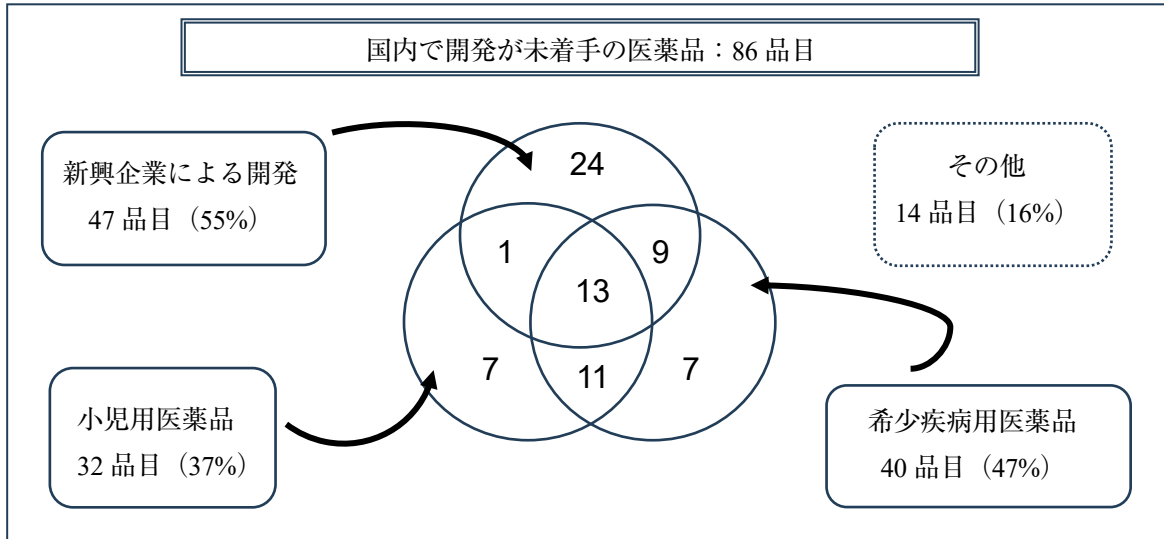
(15) 藤原康弘「医薬品の研究開発における課題認識の共有 抗がん剤 臨床開発における我が国の貢献を例に」（第1回医薬品開発協議会 資料2-6）2020.10.27, p.12. 首相官邸ウェブサイト <<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/iyakuhin/dai1/siryou2-6.pdf>>

(16) 吉田昌生「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, 2021.7, pp.60-68. <<https://www.jpma.or.jp/opir/news/063/pdf/pdf-08-01.pdf>> 以後、医薬産業政策研究所はドラッグ・ロスについて多くの研究成果を公表している。

(17) 同上, p.63.

年3月時点において国内で開発が未着手である医薬品は86品目（60.1%）に上る<sup>(18)</sup>。内訳は図3に示すとおり、ベンチャーなどの新興企業によって開発された医薬品が48品目（開発未着手医薬品のうち56%）、希少疾病用医薬品（オーファン・ドラッグ）<sup>(19)</sup>が40品目（同47%）、小児用医薬品が32品目（同37%）である<sup>(20)</sup>。

図3 ドラッグ・ロスの品目の内訳（2023年3月時点）



(出典) 飯田真一郎「ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの現状と課題」『腫瘍内科』33(4), 2024.4, pp.413-414 を基に筆者作成。

### 3 ドラッグ・ロスが生じている医薬品の特徴

本節では、新興企業によって開発された医薬品、希少疾病用医薬品、小児用医薬品におけるドラッグ・ロスの特徴について述べる。

#### (1) 欧米の新興企業が開発した医薬品

図3に示したとおり、ドラッグ・ロスを生じている医薬品の半数以上は、海外の新興企業によって開発された医薬品である。令和2（2020）年12月末時点において日本国内で開発未着手の医薬品（149品目）を対象に、医薬産業政策研究所が行った分析によれば、99品目は日本法人を持たない海外企業が欧米で開発した医薬品であった<sup>(21)</sup>。

#### (2) 希少疾病用医薬品

医薬産業政策研究所の調査によれば、令和2（2020）年時点での国内未承認薬176品目中、

(18) その後、厚生労働省が令和6（2024）年10月25日付事務連絡において公表したリストによれば、国内で開発が未着手となっている医薬品は78品目とされている。「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」に対する企業見解の提出依頼について」（令和6年10月25日厚生労働省医政局研究開発政策課／厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）

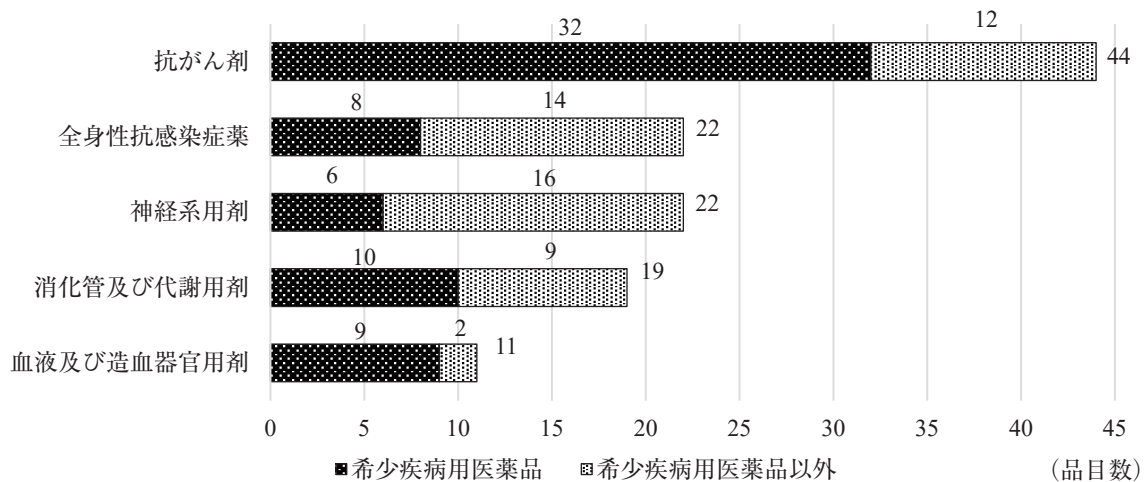
(19) 患者の数が少なく、治療法も確立されていない疾病のための医薬品。希少疾病用医薬品の定義は国によって異なる。表1（Ⅱの2（1））を参照。

(20) 「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書 参考資料」2023.6.9, p.42. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001106013.pdf>> 新興企業が開発した医薬品の品目数は図3に掲げた値（47品目）と異なるが、出典のままとした。

(21) 吉田 前掲注(16), pp.65-66.

欧米で希少疾病用医薬品指定を受けた NME は 90 品目であり、そのうち日本国内で開発未着手の NME は 50 品目に上るとされる<sup>(22)</sup>。図 4 は、薬効分類別に見た国内未承認の品目であり、特に多いのは①抗がん剤 44 品目、②全身性抗感染症薬 22 品目、③神経系用剤 22 品目、④消化管及び代謝用剤 19 品目、⑤血液及び造血器用剤 11 品目である。このうち①抗がん剤や⑤血液及び造血器用剤においては、欧米で希少疾病用医薬品指定を受けた NME が 7 割以上を占めている<sup>(23)</sup>。

図 4 薬効分類別の主な国内未承認薬の品目数及び希少疾病用医薬品の割合（2020 年）



(注 1) 2016 年から 2020 年までに欧米で承認され、かつ 2020 年末時点において日本国内で承認されていない NME のうち、特に品目の多いものを掲出した。

(注 2) 「希少疾病用医薬品」は、アメリカ食品医薬品局 (FDA) 又は欧州医薬品庁 (EMA) の少なくともどちらかから希少疾病用医薬品指定を受けている NME 品目である。

(出典) 吉田昌生ほか「ドラッグ・ラグ：未承認薬は日本のアンメット・メディカル・ニーズに込めるか?」『政策研ニュース』No.66, 2022.7, p.17. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003k2-att/66\\_2.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003k2-att/66_2.pdf)> を基に筆者作成。

### (3) 小児用医薬品

#### (i) 小児の希少疾病用医薬品

医薬産業政策研究所が行った別の調査によれば、2010 年から 2021 年にかけて、アメリカにおいて希少疾病用医薬品の指定を受け、かつアメリカで小児向けの適応を取得した NME のうち、2022 年 8 月末時点において日本国内で開発未着手となっているものは 29 品目ある<sup>(24)</sup>。

このうち、日本において指定難病<sup>(25)</sup>及び小児慢性特定疾病<sup>(26)</sup>を対象とする医薬品は 16 品目、

<sup>(22)</sup> 吉田昌生ほか「ドラッグ・ラグ：未承認薬は日本のアンメット・メディカル・ニーズに込めるか?」『政策研ニュース』No.66, 2022.7, pp.15-16. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003k2-att/66\\_2.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003k2-att/66_2.pdf)>

<sup>(23)</sup> 同上, pp.16-17. なお、国内未承認薬を薬効分類別にさらに詳細に見ると、抗がん剤においては血液がんを始めとする希少がんの NME が 44 品目中 32 品目、全身性抗感染症薬においては薬剤耐性 (Antimicrobial Resistance: AMR) 菌を適応とする NME が 22 品目中 10 品目、神経系用剤は鎮痛薬 (主として抗片頭痛製剤) が 22 品目中 8 品目を占めている (同, pp.18-21.)。

<sup>(24)</sup> 飯田真一郎ほか「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴その 1—希少疾患—」『政策研ニュース』No.69, 2023.7, p.4. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/069/kg3h4b00000004m7-att/69\\_1.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/069/kg3h4b00000004m7-att/69_1.pdf)>

<sup>(25)</sup> 他の施策体系が樹立されておらず、かつ①発病の機構が明らかでない、②治療方法が確立していない、③希少な疾病である、④長期の療養を必要とする、⑤患者数が日本において一定の人数に達していない、⑥客観的な診断基準が確立している、の 6 要件を満たし、「難病の患者に対する医療等に関する法律」(平成 26 年法律第 50 号)に基づき厚生労働大臣が指定する難病。令和 6 (2024) 年 4 月 1 日時点で 341 疾病が指定されている。

<sup>(26)</sup> ①慢性に経過する、②生命を長期に脅かす、③症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる、④長期にわたって高額な医療費の負担が続く、の 4 要件を満たし、「児童福祉法」(昭和 22 年法律第 164 号)に基づき厚生労働大臣が指定する疾病。令和 3 (2021) 年 11 月現在、788 疾病が指定されている。



小児慢性特定疾病のみを対象とするものは9品目であり、小児医療におけるニーズが高い子供の疾病のための医薬品においてドラッグ・ロスが発生していることが示されている<sup>(27)</sup>。なお、これら25品目中、遺伝性疾患が21品目を占めている<sup>(28)</sup>。

日本で開発未着手となっている29品目のうち、約半数に当たる15品目は、新興企業によって開発されたものである<sup>(29)</sup>。

## (ii) 小児がん用医薬品

2020年から2022年にかけてアメリカで小児向けの適応を取得した抗がん剤40品目のうち、2023年3月末時点において、日本で承認されているが小児適応を取得していないものは16品目、日本において未承認のものは8品目であったとされる<sup>(30)</sup>。

## II ドラッグ・ロスの要因

ドラッグ・ロスを生じさせている大きな要因として、先端的なバイオ技術を有し優れた創薬力を持つ海外の新興企業が、日本における医薬品の開発に対して消極的であるという事情がある。加えて、日本の製薬企業の国際競争力の低下という問題も指摘されている。本章では、特に前者に重点を置きつつ、なぜ日本においてドラッグ・ロスが生じているのかを概観する。

なお、一般に医薬品の開発とは、新たな医薬品の候補となる物質を創製、選択することだけを指すのではない。図5に示すとおり、一般に医薬品の開発とは、基礎研究、非臨床試験、臨床試験を経て、承認申請、販売に至るまでの長い工程を指す。

このうち臨床試験は、第Ⅰ相試験（少人数の健康成人を対象とした安全性の試験）、第Ⅱ相試験（比較的少人数の患者を対象とした有効性、安全性、使用法の試験）、第Ⅲ相試験（多数の患者を対象とした有効性、安全性、使い方の最終的な試験）の3段階に分かれる<sup>(31)</sup>。

海外製薬企業の場合、海外において第Ⅱ相試験までを行い、それが終了した段階で日本における開発（第Ⅲ相試験の実施）を検討又は着手するケースが多いとされる<sup>(32)</sup>。

<sup>(27)</sup> 飯田ほか 前掲注<sup>(24)</sup>, p.4.

<sup>(28)</sup> 同上, p.5. 25品目の対象は、遺伝性疾患が14疾患（進行性家族性肝内胆汁うっ滞症、アラジール症候群、亜硫酸酸化酵素欠損症、ハッチンソン・ギルフォード症候群、遺伝性脂肪酸代謝異常症、原発性高シュウ酸尿症、オロト酸尿症、ゴーシェ病、ポンペ病、鎌状赤血球症、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、嚢（のう）胞性繊維症、サラセミア、スミス・マギニス症候群）、希少がんが3疾患（白血病、リンパ腫、神経芽腫）、その他1疾患（脂肪酸代謝異常症）である。

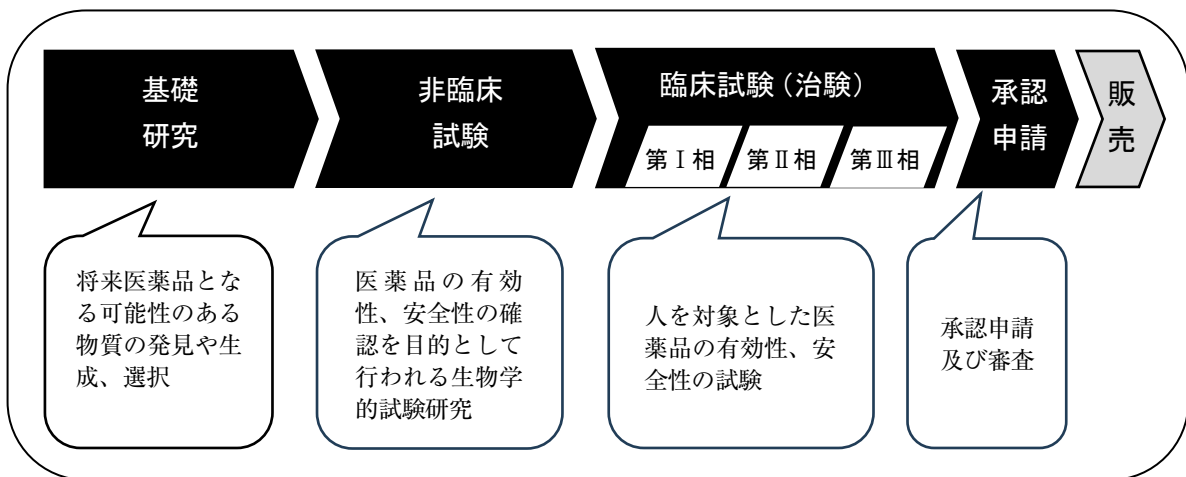
<sup>(29)</sup> 同上, p.4.

<sup>(30)</sup> 東宏・飯田真一郎「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴その2—抗がん剤—」『政策研ニュース』No.69, 2023.7, p.8. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/069/kg3h4b0000000511-att/69\\_2.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/069/kg3h4b0000000511-att/69_2.pdf)>

<sup>(31)</sup> 「2. 治験の3つのステップ」日本製薬工業協会ウェブサイト <[https://www.jpma.or.jp/about\\_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/02.html](https://www.jpma.or.jp/about_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/02.html)>

<sup>(32)</sup> 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理について（国際共同治験に参加する場合の日本人第Ⅰ相試験の必要性について）」（第2回創薬力の強化・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 資料1）2023.8.7, p.2. <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001131631.pdf>>

図5 医薬品の開発工程



(出典)「くすりができるまで」日本 SMO 協会ウェブサイト <<https://www.jasmo.org/business/flow/index.html>> を基に筆者作成。

## 1 海外の創薬における新興企業の台頭

I の 3 (1) で述べたとおり、海外の製薬業界では新興企業による新薬開発の割合が増加している。

アメリカの新薬開発における新興企業の台頭は、新薬開発の対象疾患の変化に起因するとされる。従来の創薬重点領域であった生活習慣病などを対象とする医薬品は、市場が成熟した結果、2000 年頃を境に新薬の開発の余地が乏しくなり<sup>(33)</sup>、各製薬企業のブロックバスター<sup>(34)</sup>も特許切れを迎えたことから、2010 年前後以降、アメリカにおける創薬の中心はプライマリー領域からスペシャリティ領域<sup>(35)</sup>や希少疾病領域へと移行した<sup>(36)</sup>。

希少疾病用医薬品については、患者数が少ないため治験が困難であること、開発には遺伝子組換えなどの高度な技術を必要とすること、国内市場が狭小であることなどから、大手製薬企業は新薬開発への投資を抑制していたのに対し<sup>(37)</sup>、高い研究開発力を有する新興企業は先端技術を応用した創薬に早期から積極的に取り組み<sup>(38)</sup>、現在はアメリカにおける希少疾病用医薬品の研究開発の中心として創薬を加速させている<sup>(39)</sup>。

アメリカにおけるヘルスケア分野の調査研究機関である IQVIA ヒューマンデータサイエンス研究所 (IQVIA Institute for Human Data Science) の報告によれば、アメリカにおいて上市された NME のうち、新興企業による開発品目の割合は、2014 年から 2018 年までの 5 年平均

(33) 日本政策投資銀行関西支店「創薬を中心とした医薬品産業の現状とバイオベンチャー発展に向けて」2012.7, p.10. <[https://www.dbj.jp/upload/docs/kansai1207\\_01.pdf](https://www.dbj.jp/upload/docs/kansai1207_01.pdf)>

(34) 画期的な薬効を持ち、他製品と比べ売上げが圧倒的に高い製品。

(35) プライマリー領域が生活習慣病などの疾患を対象とする医薬品の領域を指すのに対し、スペシャリティ領域とは、がんや免疫性疾患など、より専門性の高い疾患を対象とする医薬品の領域を指す。

(36) 塩谷和昭・児玉耕太「希少疾患に対する研究開発環境の変化とドラッグロス」『バイオサイエンスとインダストリー』82(2), 2024.2, pp.206-207.

(37) 長尾拓「成長が期待される米国の希少疾患治療薬市場」『マンスリー・レビュー』2016.8, pp.8-9. <[https://www.smbc.co.jp/hojin/report/monthlyreview/resources/pdf/4\\_00\\_MR1608.pdf](https://www.smbc.co.jp/hojin/report/monthlyreview/resources/pdf/4_00_MR1608.pdf)>

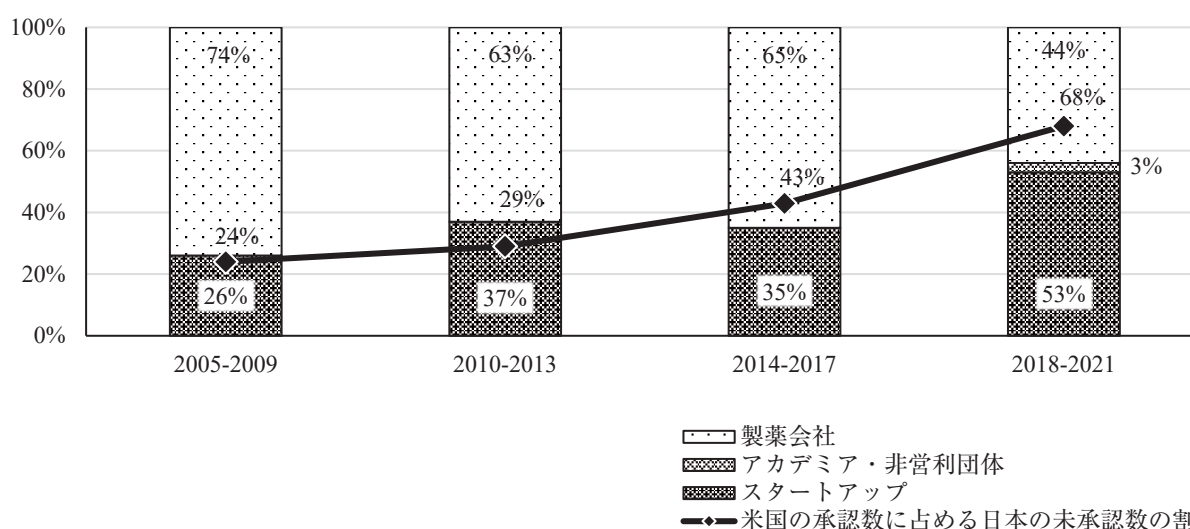
(38) 長谷川一英・渡辺孝「米国バイオテックと既存製薬企業による共生的創薬イノベーション—バイオテックの創薬開発パイプラインデータの実証分析—」『研究技術計画』22(1), 2007, pp.60-62.

(39) 塩谷・児玉 前掲注(36), p.207.

が48%であったのに対し、2019年から2023年までの5か年平均は57%にまで伸びている<sup>(40)</sup>。また、2011年に製薬企業が開始した第I相試験のうち、新興企業が出資した試験は29%であった<sup>(41)</sup>のに対し、2023年に開始された第I相試験においては66%を占めるに至っている<sup>(42)</sup>。

名古屋市立大学などの研究チームが2005年1月から2021年12月までにアメリカで承認された希少疾病用医薬品249品目を対象として行った研究によれば、2018年からアメリカでの承認数が大きく増加したとされる。さらに、希少疾病用医薬品の品目数を市販承認取得者(Marketing Authorization Holder: MAH)<sup>(43)</sup>ごとに見た場合、スタートアップ企業が開発した品目の割合が増加し、2018年から2021年までの期間の合計において53%を占めるに至っている。このように、アメリカ製薬業界における医薬品の研究開発の主体が既存の製薬企業からスタートアップなどの新興企業に遷移したことによって、日本における未承認薬は増加したと考えられる(図6)<sup>(44)</sup>。

図6 アメリカの希少疾病用医薬品におけるMAHの傾向と日本の未承認薬の割合



(出典) Kazuaki Enya et al., “Increasing orphan drug loss in Japan: Trends and R&D strategy for rare diseases,” *Drug Discovery Today*, Volume 28 Number 10, 2023.10, p.5. <<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1359644623002714?via%3Dihub>> を基に筆者作成。

新興企業は小規模であり、アメリカ、日本、欧州で同時に医薬品を開発するだけの資金力も持たない<sup>(45)</sup>。そのため、多くはアメリカ国内で着実にビジネスを展開することを目指し<sup>(46)</sup>、

(40) “Global Trends in R&D 2024: Activity, Productivity, and Enablers,” 2024.2.22, p.37. IQVIA Institute for Human Data Science website <<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/global-trends-in-r-and-d-2024-activity-productivity-and-enablers>>

(41) “Emerging Biopharma’s Contribution to Innovation,” 2022.6.13, p.21. IQVIA Institute for Human Data Science website <<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/emerging-biopharma-contribution-to-innovation>>

(42) “Global Trends in R&D 2024,” *op.cit.*(40), p.15.

(43) 当該医薬品の製造承認を世界で初めて取得した企業。

(44) Kazuaki Enya et al., “Increasing orphan drug loss in Japan: Trends and R&D strategy for rare diseases,” *Drug Discovery Today*, Volume 28 Number 10, 2023.10, pp.2-3. <<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1359644623002714?via%3Dihub>>

(45) アメリカの典型的なバイオテクノロジー企業の従業員は、30人から50人程度とされる。フィリップ・フォシェ、渋谷健司「日本のドラッグロスとドラッグラグ：現状分析と再生への提案」2024.7.3. 東京財団政策研究所ウェブサイト <<https://www.tkfd.or.jp/research/detail.php?id=4523>>

(46) 「深刻化するドラッグロス 官民で新薬喪失回避を」『日経ビジネス』2235号, 2024.4.1, p.47.

日本法人を持たず、日本での同時開発や早期開発を考慮していない<sup>(47)</sup>。こうした新興企業の特徴、すなわち、人的・財政的資源が限られ、日本で医薬品を開発する動機が乏しいことも、ドラッグ・ロスを生み出す一因となっていると指摘されている。

さらに、Ⅱの4及び5において後述するように、治験に係る日本の体制や薬価制度が海外の新興企業を呼び込めるような仕組みとなっておらず<sup>(48)</sup>、新興企業は日本を優先すべき市場とみなしていないとの指摘もあり<sup>(49)</sup>、ドラッグ・ロスを解消する上で解決すべき主要な課題とされている。

## 2 希少疾病用医薬品の開発に係る問題

希少疾病用医薬品においてドラッグ・ロスが生じている別の要因として、製薬企業からは、日本の希少疾病用医薬品指定制度における(1)指定対象の問題、(2)指定時期の問題が指摘されている<sup>(50)</sup>。

### (1) 指定対象の問題

日本において、希少疾病用医薬品は「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」(昭和35年法律第145号。以下「医薬品医療機器等法」)第77条の2に基づき、薬事審議会の意見を聴いた上で厚生労働大臣によって指定される<sup>(51)</sup>。

日本の希少疾病用医薬品制度における指定対象及び年間指定件数を、欧米の指定制度と比較しつつ表1に示す。日本における指定件数がアメリカ及び欧州と比較して非常に少ない原因は、既存の医薬品等と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されることが指定要件に上がっており、この要件を満たすことが困難であるからと考えられている。

この点については、厚生労働省において既に対応策が決定され、既承認薬による治療法が予後不良の場合や、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場合についても、指定要件に該当する場合があるとされている(Ⅲの2(1)(ii)を参照)。

(47) 今井優也・成川衛「日本における新薬開発遅延の背景に関する研究」『レギュラトリーサイエンス学会誌』12(3), 2022.9, p.243. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/12/3/12\\_235/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/12/3/12_235/_pdf/-char/ja)>

(48) 「薬価下げが招く「ドラッグロス」投資意欲そぐと批判」『日本経済新聞』2023.6.7.

(49) 塩谷・児玉 前掲注(36), p.208.

(50) 柏谷祐司ほか「希少がんに対する薬剤開発の現状と課題」『癌と化学療法』50(11), 2023.11, p.1151.

(51) 希少疾病用医薬品に指定された場合、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所を通じて助成金が交付されるほか、試験研究費総額の20%を税額控除額として算定することができる。

表1 日本、アメリカ、EUにおける希少疾病用医薬品指定の制度及び実態の比較

	日本	アメリカ	EU
指定対象	<ul style="list-style-type: none"> <li>○日本において患者が5万人未満又は指定難病。</li> <li>○重篤な疾病であり、特に医療上の必要が高い。</li> <li>○代替する適切な医薬品等又は治療方法がない。又は既存の医薬品等と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待される。</li> <li>○対象疾患に使用する理論的根拠があり、開発計画が妥当。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○アメリカにおいて患者が20万人未満。</li> <li>○20万人以上であっても開発経費が回収できる期待がない。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○EUにおいて対象が1万人中5人以下又は医薬品開発に必要な投資に対して十分なリターンを生む可能性が低い。</li> <li>○生命を脅かす、又は慢性的な消耗性疾患。</li> <li>○治療法がなく、ある場合でも大きなベネフィットがない。</li> </ul>
年間指定件数 <sup>(注1)</sup>	平均値 29 中央値 26	平均値 373 中央値 363	平均値 146 中央値 146
指定時期等	<ul style="list-style-type: none"> <li>○実態として、指定は承認申請の直前（5か月前まで）が60%を占めるとの報告あり<sup>(注2)</sup>。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○希少疾病の治療、予防又は診断における臨床データを科学的根拠とする。ヒトのデータがない場合、動物モデルの非臨床データで代替可能な場合がある。いずれも存在しない場合、他の代替データが考慮される。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○医薬品の開発のどの段階でも申請を提出できる。</li> <li>○指定の目的のため、又は製品開発の理論的根拠の提示のため、予備的な非臨床・臨床データが一般に必要とされる。</li> </ul>

(注1) 2018年から2020年までの年間指定件数の平均値及び中央値である。

(注2) 柏谷祐司ほか「国内における希少疾病用医薬品の開発促進に対する課題—希少疾病用医薬品開発企業アンケート結果より—」『レギュラトリーサイエンス学会誌』11(3), 2021.9, pp.218-221. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/11/3/11\\_213/pdf-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/11/3/11_213/pdf-char/ja)> による。

(出典) 柏谷祐司ほか「希少がんに対する薬剤開発の現状と課題」『癌と化学療法』50(11), 2023.11, pp.1151-1152 を基に筆者作成。

## (2) 指定時期の問題

欧米の制度においては開発早期に希少疾病用医薬品の指定が行える仕組みとなっているのに対し、日本製薬工業協会が令和2（2020）年9月に行った調査によれば、日本における希少疾病用医薬品の指定は承認申請の直前（5か月前まで）が60%を占めるとされ<sup>(52)</sup>、開発助成制度が適用されない期間が長期にわたるとの問題が指摘されてきた<sup>(53)</sup>。

この点についても厚生労働省において対応策が決定しており、少なくとも第I相試験を実施するために必要な非臨床試験をおおむね完了している程度の段階であれば要件を満たすとされている（Ⅲの2（1）（iii）を参照）。

## 3 小児用医薬品の開発に係る問題

小児用医薬品については開発に対するニーズが多く、その充足が喫緊の課題である<sup>(54)</sup>のに対し、臨床開発は進めにくいと指摘されている。小児用医薬品の特有の問題として、①小児は年齢、体重等によって薬物動態や薬力学<sup>(55)</sup>が異なるため、発達段階ごとの有効性・安全性の

<sup>(52)</sup> 柏谷祐司ほか「国内における希少疾病用医薬品の開発促進に対する課題—希少疾病用医薬品開発企業アンケート結果より—」『レギュラトリーサイエンス学会誌』11(3), 2021.9, pp.218-221. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/11/3/11\\_213/pdf-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/11/3/11_213/pdf-char/ja)>

<sup>(53)</sup> 柏谷ほか 前掲注50, p.1151.

<sup>(54)</sup> 例えば、がんは小児期の病死原因の第1位であり、毎年500人以上ががんで死亡している。小児がんは患者数が少なく、小児がんを構成する病型の多くは年間発症数100人未満の希少疾患であり、日本において開発が進んでいない。富澤大輔・小川千登世「本邦における小児がん医薬品開発の現状と課題」『日本小児血液・がん学会雑誌』60(3), 2023, p.254. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jspho/60/3/60\\_253/pdf-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/jspho/60/3/60_253/pdf-char/ja)>

<sup>(55)</sup> いずれも薬物が生体に与える影響を指す用語であり、前者は薬物の投与から排せつまでの過程における身体による薬物の処理、後者は医薬品が疾病及び身体の特長箇所及び影響を指す。

確認や投与量の調整が可能な剤形の開発が必要となること<sup>(56)</sup>、②一般に小児用医薬品は成人用と比べて対象となる患者数が少なく、市場が小さいにもかかわらず、成人用よりも開発・製造コストが高いため、製薬会社の収益につながりにくいこと<sup>(57)</sup>、③臨床試験の計画や同意取得に小児特有の配慮が必要なこと<sup>(58)</sup>、④被験者の確保自体が困難であること<sup>(59)</sup>などが挙げられる。

東京理科大学などが令和5(2023)年3月に実施したアンケート調査によれば、欧米において小児適応を取得済み又は開発中であるが日本国内では開発未着手の医薬品があると回答した企業は67社中30社(44.8%)に上っている。その理由としては、採算が取れない(17社)、治験の実施が困難(14社)、国内の小児患者が少ない(9社)との回答が多く挙げられている<sup>(60)</sup>。これらは日本だけでなく、小児用医薬品の開発における世界共通の課題である<sup>(61)</sup>。

こうした共通の問題を抱えつつも、日本において小児用医薬品のドラッグ・ロスが生じている原因として、日本と欧米における法制度の違いが指摘されている。アメリカ及びEUでは、成人用医薬品の臨床試験時に小児用医薬品の臨床開発計画を検討することが義務付けられており、一定の成果を上げているとされる。以下に概要を示す。

### (1) アメリカにおける取組

アメリカにおいては、1997年のアメリカ食品医薬品局近代化法<sup>(62)</sup>により、小児への適応が認められた医薬品については、インセンティブとして特許期間の6か月延長が定められた<sup>(63)</sup>。

次いで2002年に制定された小児最良医薬品法(BPCA)<sup>(64)</sup>では、アメリカ食品医薬品局(FDA)は製薬企業に対して小児用医薬品の開発を文書で要請(written request)することができ、要請に従って小児臨床試験を実施した企業に対して6か月の特許期間延長を認めることとされた<sup>(65)</sup>。

さらに、翌2003年には小児研究公平法(PREA)<sup>(66)</sup>が成立し、製薬企業は成人用医薬品の試験中(原則として第Ⅱ相試験終了後又は第Ⅲ相試験開始前まで)に小児臨床試験計画(Pediatric Study Plan: PSP)をFDAに提出し、FDAとの議論を経て合意することが義務付けられた。ただし、臨床試験の実施が困難である場合や開発を遅らせる理由がある場合などには、一部又は全ての年齢の小児での試験を免除又は猶予することができるとされた<sup>(67)</sup>。

(56) 前田憲一郎・崎山美知代「小児用医薬品開発に関する海外の動向」『医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス』52(7), 2021, p.514. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/pmdrs/52/7/52\\_514/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/pmdrs/52/7/52_514/_pdf/-char/ja)>

(57) 宍戸真梨「小児のがん、AYA世代のがん」『調査と情報—ISSUE BRIEF—』1079号, 2020.1.21, p.4. <[https://dl.ndl.go.jp/view/download/digidepo\\_11433271\\_po\\_1079.pdf?contentNo=1](https://dl.ndl.go.jp/view/download/digidepo_11433271_po_1079.pdf?contentNo=1)>; 石川洋一「小児用医薬品を取り巻く環境—開発を妨げる諸問題—」『小児科臨床』72(6), 2019.6, p.715.

(58) 関水巨大「PMDAにおける小児医薬開発の促進に向けた取り組み」『レギュラトリーサイエンス学会誌』5(2), 2015.5, p.160. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/5/2/5\\_159/\\_pdf](https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/5/2/5_159/_pdf)>

(59) 同上

(60) 拝郷久満ほか「小児用医薬品の国内開発における課題と今後の展開—小児用の医薬品開発に関する企業へのアンケート調査より—」『レギュラトリーサイエンス学会誌』14(1), 2024.1, pp.9, 11. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/14/1/14\\_5/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/14/1/14_5/_pdf/-char/ja)>

(61) 関水 前掲注(58), p.160.

(62) Food and Drug Administration Modernization Act of 1997, 21 U.S.C. §§ 301 et seq. (1997).

(63) 中里有希「欧米における小児医薬品開発の取組み」『ファルマシア』58(3), 2022, pp.207-208. <[https://www.jstage.jst.go.jp/article/faruawpsj/58/3/58\\_207/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/faruawpsj/58/3/58_207/_pdf/-char/ja)>

(64) Best Pharmaceuticals for Children's Act, 21 U.S.C §§ 355a (2002).

(65) 前田・崎山 前掲注(56), p.514; 小川千登世「RACE for Children Act: 米国における小児向け分子標的薬開発促進の動き」『小児内科』55(2), 2023.2, p.192.

(66) Pediatric Research Equity Act of 2003, 21 U.S.C. §§ 355b (2003).

(67) 中里 前掲注(63), pp.207-208.

PREA の制定は、がん以外の小児の臨床分野では効果的であったが、がん領域では効果が上がらず、2007 年から 2017 年までに承認された成人用がん医薬品は全て小児試験が免除されていた<sup>(68)</sup>。そのため、2017 年 8 月 18 日には PREA の改正法である「小児のための治療法及び公平化促進のための研究法 (RACE 法)」<sup>(69)</sup> が制定された<sup>(70)</sup>。RACE 法においては、医薬品の分子標的又は作用機序が小児がんに関連する場合、希少疾病用として指定されている医薬品も含め、全ての成人用医薬品の新薬に対して小児試験が義務付けられた<sup>(71)</sup>。

PSP の導入によって小児適応を取得した医薬品数は増加し<sup>(72)</sup>、RACE 法の施行も小児がん用医薬品の開発につながっているとの調査結果がある<sup>(73)</sup>。他方、小児用の開発を免除又は猶予される品目も多く、アメリカにおける小児用医薬品の開発促進の課題として残されている<sup>(74)</sup>。

## (2) EU における取組

EU では、2007 年 1 月 26 日に小児医薬品規制 (Paediatric Regulation)<sup>(75)</sup> が施行され、製薬企業が成人用医薬品の開発を行う際、小児用医薬品の開発を行うことが義務化され、製薬企業は成人用医薬品の試験中 (第 I 相試験終了後又は第 II 相試験開始前まで) に、小児開発計画 (Paediatric Investigation Plan: PIP) を提出することとされた<sup>(76)</sup>。小児用医薬品の開発を行った製薬企業に対しては各種のインセンティブが設けられている。NME 又は特許期間中の医薬品については 6 か月の特許期間延長が認められ、希少疾病用医薬品については 10 年の販売独占権を 12 年に延長することが認められる。そのほか、特許切れとなった医薬品について小児用の開発を行った場合、通常 8 年の小児用開発データの保護と販売独占権を、10 年に延長することができる<sup>(77)</sup>。

こうした制度は一定の成果を上げているとされるが<sup>(78)</sup>、PIP においても、安全性又は有効性に懸念があるなどの場合には小児用医薬品の開発を免除又は猶予することが認められており<sup>(79)</sup>、アメリカと同様、開発を免除又は猶予される品目が多いことが課題となっている<sup>(80)</sup>。

(68) Ian T. T. Liu and Aaron S. Kesselheim, "The RACE Act and Pediatric Trials of Adult Cancer Drugs," *Pediatrics*, Volume 154 Issue 4, October 2024. <<https://publications.aap.org/pediatrics/article/154/4/e2024066920/199195/The-RACE-Act-and-Pediatric-Trials-of-Adult-Cancer>> 医薬品の大多数は希少疾病用として承認を受けたために PREA の対象外となり、それ以外の医薬品については、対象となるがんが小児には発生しないとして小児試験を免除された。

(69) Research to Accelerate Cures and Equity for Children Act, 21 U.S.C. §§ 355c (2017).

(70) 小川 前掲注(65), p.192.

(71) 同上, p.192. ただし、免除及び猶予の規定は残っている。

(72) 拝郷ほか 前掲注(60), p.22.

(73) RACE 法の施行から 2024 年 3 月 1 日までに FDA に承認申請された分子標的薬を分析した調査によれば、RACE 法の対象となる 21 種類の医薬品のうち、3 種類について完全な小児試験が課されたほか、10 種類について試験の部分的免除と猶予がなされ、小児試験が完全に免除されたのは 8 種類のみであったとされる。Liu and Kesselheim, *op.cit.*(68)

(74) 拝郷ほか 前掲注(60), p.22.

(75) Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and amending Regulation (EEC) No 1768/92, Directive 2001/20/EC, Directive 2001/83/EC and Regulation (EC) No 726/2004; Regulation (EC) No 1902/2006 of the European Parliament and of the Council of 20 December 2006 amending Regulation 1901/2006 on medicinal products for paediatric use.

(76) 中里 前掲注(63), p.208.

(77) 同上, p.209.

(78) 拝郷ほか 前掲注(60), p.22.

(79) 中里 前掲注(63), p.208.

(80) 拝郷ほか 前掲注(60), p.22.

#### 4 国際共同治験に関する問題

国際共同治験とは、新薬の世界規模での開発・承認を目指して企画される治験であり、1つの治験に複数の国又は地域の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づいて同時並行で進行する臨床試験を指す<sup>(81)</sup>。

海外で開発された医薬品が遅滞なく日本で承認されるためには、海外承認時に国際共同治験が実施され、その試験に日本地域が組入れられていることが重要である<sup>(82)</sup>。しかし、医薬産業政策研究所の調査によれば、2016年から2020年までにFDAで承認された抗がん剤及び神経系用剤のうち、日本における未承認薬が増加した主要因は、国際共同治験として実施されるピボタル試験<sup>(83)</sup>に日本が組入れされないことにあるとされ、特に新興企業が主導するピボタル試験への日本の組入れ率が低いことが指摘されている<sup>(84)</sup>。

アジア主要地域が参加する治験に限って見ても、新興企業が主導する国際共同治験において、日本の参加率は24.6%にすぎず<sup>(85)</sup>、韓国(59.0%)、台湾(41.3%)、中国(29.0%)を下回っており、韓国の半分以下の水準にとどまっている<sup>(86)</sup>。新興企業が国際共同治験に日本を組入れしない理由については、以下の指摘がある。

##### (1) 日本人での第I相試験実施の必要性

日本における新薬は、日本人に使用することの妥当性と安全性を評価することが義務付けられており、原則として国際共同治験の実施前に日本人を対象とする第I相試験を追加実施することが求められていた。このことが海外製薬企業にとってのハードルとなっていたと考えられる<sup>(87)</sup>。

なお、この点については厚生労働省において既に見直しが行われ、外国人と日本人で安全性の違いが懸念されるなどの場合を除き、原則として日本人を対象とした第I相試験を不要とするよう、運用が改められている(Ⅲの2を参照)。

##### (2) 治験費用の高さ、不透明さ

一般に、日本における臨床試験の費用は諸外国よりも高く、医療機関への1症例当たりの支払費用の中央値をアジア各国と比較した2011年の調査によれば、日本を100とした場合、韓国は34、中国は20.65、台湾は35.9であったとされる<sup>(88)</sup>。

治験費用は、主として治験を実施する医療機関に対して支払う費用と、臨床開発モニター(Clinical Research Associate: CRA)<sup>(89)</sup>などに支払う費用(CRA費用等)に分けられる<sup>(90)</sup>。

(81) 「国際共同治験に関する基本的考え方について」(平成19年9月28日薬食審査発第0928010号)

(82) 飯田真一郎ほか「ドラッグ・ラグ:なぜ、未承認薬が増えているのか?」『政策研ニュース』No.66, 2022.7, p.27. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003na-att/66\\_3.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/bvd7r100000003na-att/66_3.pdf)>

(83) 薬事承認申請に必要なデータを取得するために実施される臨床試験。医薬品の有効性と安全性を証明する重要な試験であり、主試験、中核的試験ともいう。

(84) 飯田ほか 前掲注82, p.36.

(85) 東宏・白石隆啓「近年における国際共同治験の動向調査—2023年までの動向とアジア地域について—」『政策研ニュース』No.73, 2024.11, p.19. <[https://www.jpma.or.jp/opir/u15at700000002sf-att/News-73\\_02.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/u15at700000002sf-att/News-73_02.pdf)>

(86) 同上

(87) 保田知生「ドラッグ・ラグ ドラッグ・ロスについて」『日本臨牀』82(増刊2), 2024.4, pp.569-570.

(88) 渡邊祐介・吉野友明「グローバル試験から排除されないために～コスト意識が日本の治験を活性化する～」p.18. 欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)ウェブサイト <[https://www.efpia.jp/link/Conference\\_on\\_CRC\\_and\\_Clinical\\_Trials\\_2020\\_in\\_Nagasaki\\_Presentation\\_Materials.pdf](https://www.efpia.jp/link/Conference_on_CRC_and_Clinical_Trials_2020_in_Nagasaki_Presentation_Materials.pdf)>

(89) 治験が適切に行われているかをモニタリングする担当者。

(90) 佐藤暁洋ほか「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究 総括研究報告書(令和4年度厚生労働



このうち、医療機関費用については、1症例当たりの単価が高いことや、欧米で主流の治験費用算定方式が日本では浸透しておらず、医療機関ごとに費用が異なり、海外の企業から見て算定方式が不透明であることが指摘されている<sup>(91)</sup>。また、CRA費用については、中央治験審査委員会（Central IRB）<sup>(92)</sup>の導入の遅れ、IRBの書類の多さ、治験関連文書の電子化の遅れなどがCRAの負担を重くし、費用の増大につながっていると指摘されている<sup>(93)</sup>。

### (3) 治験体制の整備の必要性

現状では、治験の実施体制について医療機関ごとに大きくばらつきがあり、症例登録のスピード、患者の臨床試験組入れまでの期間、リソース不足、がん種横断的な開発体制の構築、次世代研究者の育成など、解決すべき課題は多岐にわたると指摘されている<sup>(94)</sup>。

### (4) 新興企業に対する日本の治験プロセス及び規制等の情報共有の必要性

海外の新興企業は日本に固有の治験プロセス、規制要件、治験費用等に関する情報が不足しており、新興企業に説明するための公的な情報や文書もないため、日本に固有の治験環境について理解するのに時間を要しているとの指摘がある<sup>(95)</sup>。また、より詳細な疾患情報の共有も重要な課題とみなされ<sup>(96)</sup>、開発対象とする疾患情報についてきめ細かい把握と提供が必要とされている<sup>(97)</sup>。

## 5 薬価制度の問題

### (1) 薬価の低さ

日本において薬価は低く抑えられており、市場としての魅力が薄いとの指摘がある<sup>(98)</sup>。

欧州製薬団体連合会が、平成30（2018）年4月から令和5（2023）年5月までの間に日本で薬価収載された医薬品のうち、17品目の平均価格を国際比較した調査によれば、日本を100とした場合、フランスが101、イギリスは110、ドイツは137、アメリカは168であり、海外の製薬会社からは、日本の保険収載時の薬価は欧米と比較して低い傾向にあると指摘されている（図7）<sup>(99)</sup>。

---

行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）」p.3. <[https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/report\\_pdf/202206017A-sokatsu.pdf](https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/report_pdf/202206017A-sokatsu.pdf)>

<sup>(91)</sup> 同上, pp.4, 18-22.

<sup>(92)</sup> 治験審査委員会（Institutional Review Board: IRB）とは、治験が実施される前に治験の倫理性、安全性、科学的妥当性を審査する委員会を指す。日本では医療施設ごとにIRBが設置・運営され、複数の施設で治験を行う場合、複数のIRB審査を行う必要が生じる。中央IRBは複数の医療機関が共同で参加する審査委員会であり、中央治験審査委員会が審査を担うことにより、施設ごとの治験審査委員会共通の重複業務が減り、業務負担や費用が縮減されることが期待できるが、日本では普及していない。

<sup>(93)</sup> 佐藤ほか 前掲注<sup>(90)</sup>, p.3

<sup>(94)</sup> 山本昇「ドラッグラグ・ロスに対する医療機関の認識と課題」『腫瘍内科』33(4), 2024.4, p.423.

<sup>(95)</sup> 安藤幸治「ドラッグラグ・ロスの事例における課題・提案（CRO／国内治験管理人の立場から）」『腫瘍内科』33(4), 2024.4, p.418.

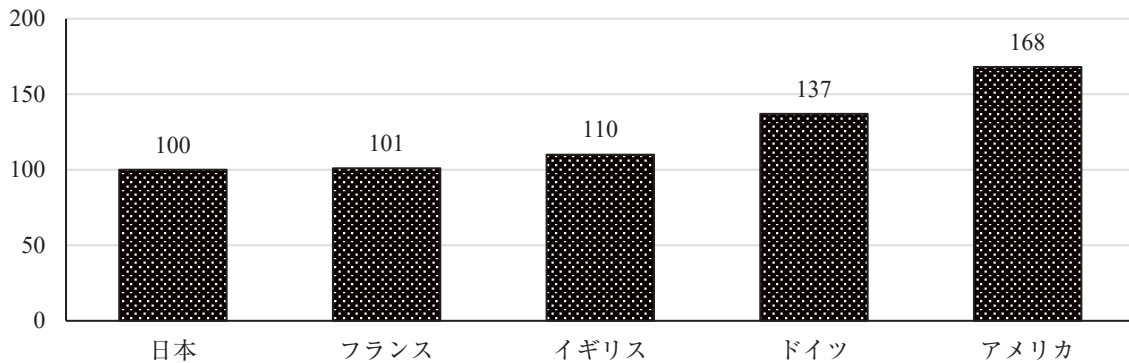
<sup>(96)</sup> 山本 前掲注<sup>(94)</sup>, p.423.

<sup>(97)</sup> 同上, p.423. 新興企業が求める疾患情報とは、例えば単なるがん種ごとの患者数ではなく、「●●遺伝子異常を有する▲▲がん」の患者数であるとされる。

<sup>(98)</sup> 「ビジュアルでわかる ドラッグロス、なぜ起きる？」『日本経済新聞』2024.2.6.

<sup>(99)</sup> 欧州製薬団体連合会「中央社会保険医療協議会薬価専門部会陳述資料」（中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第203回）資料薬-3）2023.7.5, p.5. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001117444.pdf>>

図7 各国の薬価比較（日本を100とした場合）



(注) 2018年4月から2023年5月に日本で保険収載された医薬品のうち、原価計算方式（薬価算定単位当たりの製造原価に、販売費・一般管理費・営業利益・流通経費・消費税を加えた額を薬価とする方式）により算定され、制度上参照可能な外国価格が2か国以上存在した17品目の平均価格を比較。  
 (出典) 欧州製薬団体連合会「中央社会保険医療協議会薬価専門部会陳述資料」（中央社会保険医療協議会薬価専門部会（第203回）資料薬-3）2023.7.5, p.5. <<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001117444.pdf>> を基に筆者作成。

## (2) 薬価の予見性の低さ

薬価の予見性という観点においては、収載時の薬価及び上市後の薬価改定の想定が困難であるとの問題が指摘されている。

### (i) 収載時の薬価算定における問題

薬価算定に当たっては、類似薬がある場合は類似薬効比較方式、類似薬がない場合は原価計算方式<sup>(100)</sup>に基づき、中央社会保険医療協議会（以下「中医協」）の検討を経て決定されるが、算定の根拠はブラックボックスに近く、透明性に欠けるとの批判<sup>(101)</sup>や、原価計算方式では新薬のイノベーションなどの価値が適切に反映されない<sup>(102)</sup>などの指摘がなされている。

### (ii) 薬価改定における問題

平成12（2000）年に導入された市場拡大再算定は、医薬品の年間予想販売額の一定倍数を超えた場合等において、薬価改定時に価格を更に引き下げる制度であり、平成28（2016）年には特例が設けられ、年間販売額が1000億円超かつ年間販売額が予想を一定以上超えて利益が膨らんだ大型薬に対し、薬価が最大で50%引き下げられることとされた<sup>(103)</sup>。また、再算定の対象となった医薬品の類似薬についても再算定の対象として薬価が引き下げられる、いわゆる「共連れルール」がある<sup>(104)</sup>。こうした仕組みは優秀な企業の収益確保の機会を奪い、先進的な新薬の導入をためらわせる要因となると指摘されている<sup>(105)</sup>。

また、製薬企業は薬価のルール改定が度重なることについても反発しており、米国研究製薬

(100) 薬価算定単位当たりの製造原価に、販売費、一般管理費、営業利益、流通経費、消費税を加えた額を薬価とする方式。

(101) 『日本経済新聞』前掲注(48)

(102) 菅原琢磨・小黒一正「経済教室 薬価制度からみる医療行政（上）創薬への意欲失わせるな」『日本経済新聞』2022.6.28.

(103) 厚生労働省「薬価制度の抜本改革等に関する配付資料」（経済・財政一体改革推進委員会社会保障ワーキング・グループ第22回 参考資料2）2017.10.18, p.39. 内閣府ウェブサイト <<https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/special/reform/wg1/291018/sankou2-7.pdf>>

(104) 『日本経済新聞』前掲注(48)

(105) 菅原・小黒 前掲注(102)

工業協会（PhRMA）は、新たな薬価算定ルールが平成 27（2015）年以降 50 以上導入され、薬価の予見性が低下し、投資意欲をそいでいると批判している<sup>(106)</sup>。

なお、これらの指摘のうち、市場拡大再算定の「共連れ」ルールについては、令和 6（2024）年度薬価制度改革において中医協が見直しを行い、特定領域については類似品としての再算定の適用を除外する（特定領域の範囲は今後検討）こととしている（Ⅲの 4 を参照）。

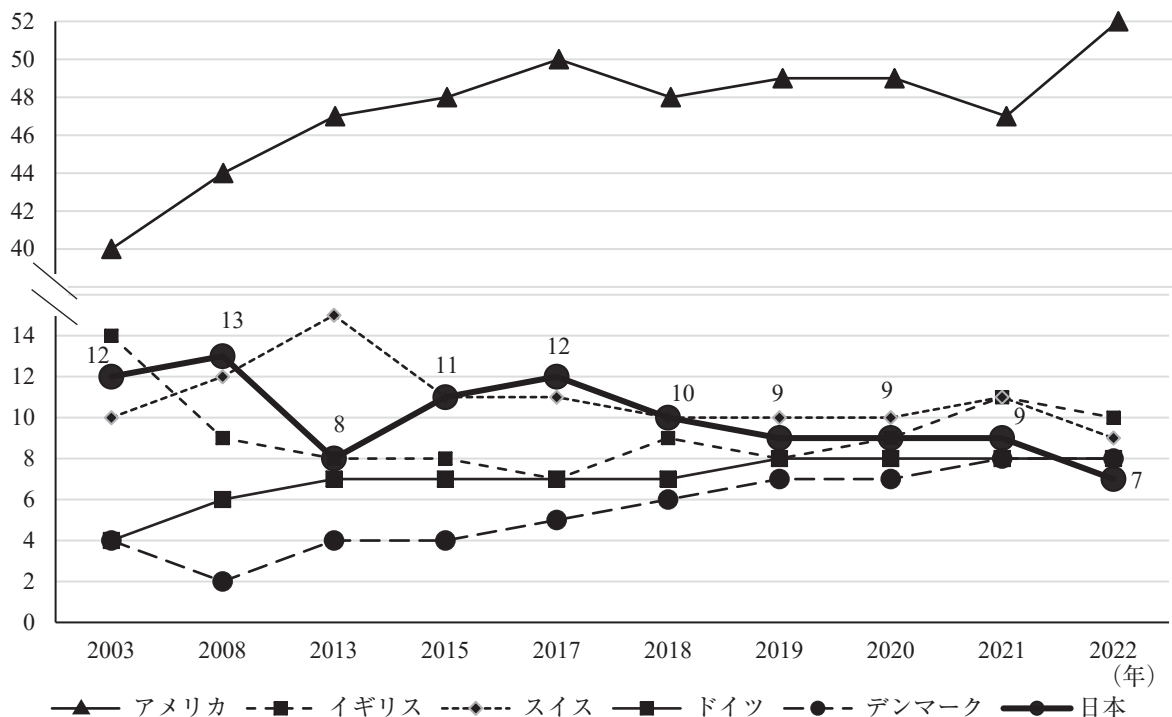
## 6 日本企業の国際競争力の低下

欧米新興企業による医薬品開発の問題と並び、ドラッグ・ロスを招来しているもう 1 つの要因として、日本の製薬企業による創薬力の低下とイノベーションの欠如を挙げることができる。

令和 4（2022）年における世界の医薬品の売上高上位 100 品目について、創出企業の国籍を品目数順に見ると、アメリカ（52 品目）、イギリス（10 品目）、スイス（9 品目）、ドイツ（8 品目）、デンマーク（8 品目）、日本（7 品目）の 6 か国で世界全体の 9 割超を占めている。

日本企業が創出した医薬品数の推移をたどると、図 8 に示すとおり、平成 15（2003）年においては 12 品目であったが、以後はおおむね減少傾向にある<sup>(107)</sup>。

図 8 売上高上位 100 品目の医薬品創出企業の国籍別医薬品数年次推移



（出典）森本潔「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍—2022 年の動向—」『政策研ニュース』No.71, 2024.3, pp.58-59. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/071/es9fc600000000azv-att/71\\_6.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/071/es9fc600000000azv-att/71_6.pdf)> を基に筆者作成。

日本の創薬力の低下の原因としては、従来の低分子医薬品からバイオ医薬品への開発対象の移行が遅れたことが挙げられる<sup>(108)</sup>。上述した世界の売上高上位 100 品目のうち、バイオ医薬

<sup>(106)</sup> 『日本経済新聞』前掲注(48)

<sup>(107)</sup> 森本潔「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍—2022 年の動向—」『政策研ニュース』No.71, 2024.3, pp.58-59. <[https://www.jpma.or.jp/opir/news/071/es9fc600000000azv-att/71\\_6.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/news/071/es9fc600000000azv-att/71_6.pdf)>

<sup>(108)</sup> 『日本経済新聞』前掲注(98)

品は45品目であり、上位品目売上高の55%を占める。バイオ医薬品の品目数の内訳を企業の国籍別に見ると、アメリカが19品目、スイス及びデンマークが8品目であるのに対し、日本は2品目にとどまっている。

日本製薬工業協会はこのような状況を指して、日本の製薬企業が新規モダリティ<sup>(109)</sup>による新薬創出において欧米にキャッチアップできていない<sup>(110)</sup>と述べ、その最も大きな要因として「アカデミア、スタートアップ、製薬企業が有機的に連携する創薬エコシステム<sup>(111)</sup>が構築されず、グローバルなオープンイノベーション<sup>(112)</sup>の潮流に乗り遅れた<sup>(113)</sup>」ことを挙げている。

### Ⅲ 政府による対策 (1) 海外の製薬企業を日本市場に呼び込むための施策

令和5(2023)年6月16日に閣議決定した「経済財政運営と改革の基本方針2023」(以下「骨太の方針2023」)において、ドラッグ・ロスの問題に対応する旨が明記された<sup>(114)</sup>。

この「骨太の方針2023」が公表される前後から、政府は厚生労働省の検討会や中医協、内閣官房に設置された会議体等においてドラッグ・ロス対策の検討を行っており、令和6(2024)年7月には政策目標及び工程表を公表し、ドラッグ・ロスの解消に向けた令和10(2028)年までの道筋を示している。厚生労働省では医薬品医療機器等法の改正に向けた審議も行われ、改正に向けた主要テーマの1つとして「ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立」<sup>(115)</sup>が掲げられた。

以上のように、ドラッグ・ロスの解消に向けた施策の検討体制は複数に分かれ、また各体制における検討事項は多岐にわたる。

本稿では、現時点において実施又は検討されている施策を、①海外の新興企業を日本市場に呼び込むための施策、②日本の創薬力の強化のための対策に分け、前者をⅢ、後者をⅣにおいて整理し、政府によるドラッグ・ロス対策の全体像を概観する。

(109) 製薬におけるモダリティとは創薬モダリティとも呼ばれ、医薬品製造の基盤技術の方法・手段又はそれに基づく医薬品の分類を指す。新規モダリティとしては、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療、細胞治療、遺伝子細胞治療などが挙げられる。

(110) 日本製薬工業協会「製薬協 政策提言2023」2023.2, p.7. <[https://www.jpma.or.jp/vision/industry\\_vision2023/jtrngf0000001dg5-att/01.pdf](https://www.jpma.or.jp/vision/industry_vision2023/jtrngf0000001dg5-att/01.pdf)>

(111) アカデミアやベンチャー企業が持つ医薬品のシーズが、政府、投資家、製薬企業などの連携・協業により実用化し、更なる開発につながる循環を指す言葉。「革新的な医薬品を生み出す「創薬エコシステム」、日本の製薬産業を支えるか」『日刊工業新聞』2024.8.19.

(112) 企業内部と外部の垣根を越えて新薬の技術や治験を組み合わせ、革新的な成果につなげる活動を指す。

(113) 日本製薬工業協会 前掲注(10), p.7.

(114) 「骨太の方針2023」には、「創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。これらにより、ドラッグラグ・ドラッグロスの問題に対応する。」と記されている。「経済財政運営と改革の基本方針2023—加速する新しい資本主義—未来への投資の拡大と構造的賃上げの実現—」(令和5年6月16日閣議決定) p.38. 内閣府ウェブサイト <[https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2023/2023\\_basicpolicies\\_ja.pdf](https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2023/2023_basicpolicies_ja.pdf)>

(115) 厚生労働省医薬局「次期制度改正に向けた検討のテーマについて」(令和6年度第1回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 資料2-1) 2024.4.18. <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001246371.pdf>>

## 1 「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」における検討

令和4（2022）年8月、厚生労働省は、日本の医療水準の維持・向上のために必要な、革新的医薬品や医療ニーズの高い医薬品の日本への早期上市、医薬品の安定供給などの観点から、現状の課題を踏まえ、流通や薬価制度の在り方について検討を行うことを目的として「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」（以下「有識者検討会」）を設置し、令和5（2023）年6月9日に検討結果を報告書として取りまとめた<sup>(116)</sup>。

同報告書は、医薬品産業を取り巻く現下の諸課題の1つとしてドラッグ・ロスの問題を挙げ、その解消に向けた対策の方向性を示した。そのうち、主として海外の新興企業を日本市場に呼び込むための対策に関連するものを抽出して表2に掲げる。

表2 有識者検討会報告書における海外新興企業への対応策の方向性

項目	施策
革新的医薬品の迅速導入に向けた環境の整備	<ul style="list-style-type: none"> <li>○国際共同治験への対応を強化。特に、国際共同治験に参加するための日本人データの要否等、薬事承認における日本人データの必要性を整理。</li> <li>○希少疾病用医薬品指定制度について、早期段階から指定できるように制度を見直し。</li> <li>○小児用医薬品の開発計画策定の促進や、新たなインセンティブを検討。</li> <li>○海外ベンチャー等に対し、日本の制度を伝達。</li> </ul>
現に発生しているドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスへの対応強化 <sup>(注1)</sup>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議<sup>(注2)</sup>の実施に当たってPMDAの体制を強化し、評価・薬事承認を加速。外資系企業に同検討会議のスキームを発信し、利用を促進する。</li> </ul>
日本市場の魅力を向上させる薬価制度	<ul style="list-style-type: none"> <li>○新規モダリティなどの革新的医薬品についての新たな評価方法を検討。</li> <li>○医療上特に必要な革新的医薬品の迅速導入に向けた新たなインセンティブを検討。</li> <li>○ベンチャー発出品目の新薬創出等加算における適切な評価の在り方を検討。</li> <li>○医療上特に必要な革新的医薬品について、特許期間中の薬価維持の仕組みの強化を検討。</li> <li>○市場拡大再算定について、再算定の対象となる類似品の考え方の見直しを検討。</li> <li>○医療保険財政への影響を考慮しメリハリをつけた対応などを検討。</li> </ul>

(注1) ここに挙げた施策のほか、報告書は国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）による臨床研究中核病院の研究計画の支援も挙げている（本表では海外新興企業への対応策のみを掲げることとし、除外した。）。

(注2) 製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促すため、平成21（2009）年に設置された会議体。海外で使用されているが日本で未承認の医薬品及び適応等について開発要望を募集し、寄せられた要望の医療上の必要性についての評価等を行う。

(出典)「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書（ポイント）」厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001105762.pdf>> を基に筆者作成。

## 2 薬事規制の在り方に関する検討

厚生労働省は有識者検討会の議論を受け、主に薬事規制に関係する事項を中心に具体的な対応策の検討を進めることを目的として、令和5（2023）年7月に「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」（以下「薬事規制検討会」）を設置し、令和6（2024）年4月24日に検討結果を報告書として取りまとめた<sup>(117)</sup>。報告書が掲げたドラッグ・ロス対策のうち、特に海外の新興企業を日本市場に呼び込む施策と密接に関連していると考えられるものについて、表3に示す。

この薬事規制検討会では、医薬品の開発に関する規制緩和が次々に議論され、その多くが報告書の取りまとめを待たずに実施されている。本稿では、表3に掲げた項目のうち、特に「開

<sup>(116)</sup> 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書」2023.6.9. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001106010.pdf>>

<sup>(117)</sup> 「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」2024.4.24. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>>

発促進」及び「臨床試験」に挙げた施策の具体的な内容について以下に述べることにしたい（なお、「情報発信」についてはⅢの3で述べる。）。

表3 薬事規制検討会報告書におけるドラッグ・ロス対策

検討領域	検討テーマ	検討状況	実施状況 <sup>(注1)</sup>
開発促進	希少疾病用医薬品の指定の在り方	希少疾病用医薬品の指定要件等のうち、①いわゆる「輪切り」に当たらない要件の明確化、②医療上の必要性が認められる範囲の明確化、③指定時期の早期化を了承した。	○
	小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等の在り方	成人用医薬品の開発時に、企業が任意で小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAの認証を受けられる仕組みを導入することなどを了承した <sup>(注2)</sup> 。	○
臨床試験	薬事承認における日本人データの必要性	安全性・忍容性 <sup>(注3)</sup> が説明でき、かつ安全性が臨床的に許容・管理可能である場合、医薬品の国際共同治験に際し、日本人を対象とした第Ⅰ相試験を原則として不要とすることを了承した。	○
	迅速な承認制度の在り方	日本人の臨床試験の結果の提出を承認後に求める場合には、原則として条件付き承認制度を活用することを了承した。同制度における「検証的臨床試験の実施が困難又は相当の時間を要する」との要件については、幅広く解釈できることとした。制度的枠組みについては引き続き検討とした。	○
	治験の更なる効率化（エコシステム）の導入	治験をめぐる環境変化に対応した規制の在り方として、①中央IRBの活用促進、②治験費用の算定方法の合理化、③治験運用の更なる合理化について今後検討を進めることとした。	
情報発信	日本の薬事制度に関する海外への情報発信	PMDAの事業を通じた海外への積極的・能動的な情報発信が重要であるとの議論を行った。	

(注1) 令和6(2024)年11月30日時点で施策が実施されている項目については○を付した。  
 (注2) PMDAの認証を受けて開発され、小児適応が承認された医薬品は、薬価の小児加算の加算率がより高く評価される。表5の「小児用の医薬品に関する評価」を参照。  
 (注3) 医薬品の副作用に患者がどの程度まで耐え得るかを示す語。  
 (出典) 「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」2024.4.24. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>>; 中井清人「厚生労働省のドラッグ・ロス対策」『腫瘍内科』33(4), 2024.4, p.426を基に筆者作成。

(1) 希少疾病用医薬品の指定の在り方について

希少疾病用医薬品の指定要件については、以下の3点が明確化された。本件は令和6(2024)年1月16日に関連通知等が発出され、既に実施済みである<sup>(118)</sup>。

(i) 「輪切り」の要件の明確化

前述(表1)のとおり、日本の希少疾病用医薬品制度においては、患者数5万人未満の疾患を対象とすることが希少疾病用医薬品の指定要件の1つとなっている。特定の疾患の患者数について、医学薬学上の明確な理由なく「重篤な」等の接頭語等を追加することにより、患者数を5万人未満として計算すること(いわゆる「輪切り申請」)は認められていない。しかし、この解釈が厳格に運用されるあまり、開発支援の対象となるべき疾患領域であるにもかかわらず、

(118) 「「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)厚生労働省ウェブサイト <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8207&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8207&dataType=1&pageNo=1)>; 「希少疾病用医薬品の指定に関する取扱いについての質疑応答集(Q&A)について」(令和6年1月16日事務連絡)同 <<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001285834.pdf>>; 「優先審査等の取扱いについて」の一部改正について」(令和6年1月16日医薬薬審発0116第2号、医薬機審発0116第2号)同 <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8208&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8208&dataType=1&pageNo=1)>; 「再審査期間の取扱いについて」の一部改正について」(令和6年1月16日医薬薬審発0116第3号)同 <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8205&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8205&dataType=1&pageNo=1)>

指定対象から外れる場合があった。そのため、医学薬学上の検討に基づき、高いアンメット・メディカル・ニーズ<sup>(119)</sup>がありつつも開発が進んでいない疾患に対して医薬品を製造販売する場合、当該疾患は「輪切り」に該当しないことを明確化した<sup>(120)</sup>。

## (ii) 医療上の必要性の要件の明確化

希少疾病用医薬品の指定要件のうち、「代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと」の範囲が不明瞭であるため、既承認薬があれば、必ずしも十分に奏効が認められない場合でも、代替する医薬品があるとみなされてきた。この点について薬事規制検討会では、既承認薬による治療法が予後不良の場合なども要件に該当することや、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場合も要件に該当する場合があることなどを確認した<sup>(121)</sup>。

## (iii) 希少疾病用医薬品の指定の早期化

希少疾病用医薬品の指定要件のうち、開発の可能性に係る要件として「その開発に係る計画が妥当であると認められること」の範囲が不明瞭であるため、指定が臨床後期の段階となる場合があった。しかし、特にベンチャー企業では、希少疾病用医薬品に指定されていることをもって投資を呼び込み、日本の臨床開発に着手可能となる場合があるため、臨床開発の後期にならなければ指定を受けられない場合、日本での開発を断念することがある。この点について、薬事規制検討会では、少なくとも第Ⅰ相試験を実施するために必要な非臨床試験をおおむね完了している程度の段階であれば、要件を満たすとした<sup>(122)</sup>。

## (2) 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等の在り方について

成人用医薬品の開発時に、企業が任意で小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAの確認を受けられる制度が導入された<sup>(123)</sup>。本件は厚生労働省から令和6(2024)年1月12日に関連通知等が発出され<sup>(124)</sup>、既に実施済みである。

なお、欧米では成人用医薬品の開発時に小児用医薬品の開発を義務付ける法制度があり(Ⅱの3を参照)、薬事規制検討会においては義務化についての議論もなされたが、欧米でも免除や猶予の規定があり、企業と当局の間で多くの折衝が行われていること、治験のしやすい環境が未整備の現状では、製薬企業が日本の市場を忌避する可能性もあることなどから、義務化はされなかった<sup>(125)</sup>。

(119) いまだ有効な治療方法がない疾患への医療ニーズ。

(120) 「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」前掲注(117), p.4.

(121) 同上, p.5.

(122) 同上, p.5-6.

(123) 同上, p.10.

(124) 「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」(令和6年1月12日医薬薬審発0112第3号)厚生労働省ウェブサイト <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8190&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8190&dataType=1&pageNo=1)>; 「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について」(令和6年3月29日医薬薬審発0329第1号)同 <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8406&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8406&dataType=1&pageNo=1)>; 「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定についての質疑応答集(Q&A)について」(令和6年3月29日事務連絡)同 <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8407&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8407&dataType=1&pageNo=1)>

(125) 「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」前掲注(117), pp.9-10; 「第1回創薬力の強化・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 議事録」2023.7.10. 厚生労働省ウェブサイト <[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_34892.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_34892.html)>

### (3) 迅速な承認制度の在り方について

新薬の承認後に日本人の臨床試験の結果の提出を求める場合には、条件付き承認制度<sup>(126)</sup>の活用を検討することとされた。また、条件付き承認制度の活用に当たって、「検証的臨床試験の実施が困難又は相当の時間を要する」との要件は、日本人の追加データが必要となることによって試験の実施が困難又は相当の時間を要する場合や、臨床試験の実施により医薬品の承認が遅れることの患者への不利益の程度が大きい場合には要件に該当することとするなど、幅広く解釈できるものとされた<sup>(127)</sup>。本件は厚生労働省から令和6(2024)年10月23日に関連通知等が発出され、既に実施済みである<sup>(128)</sup>。

なお、条件付き承認制度については取消規定が存在しないことも問題とされている。取消規定の新設も含めた制度の在り方についての検討は医薬品医療機器等法改正の議論へと引き継がれている(Ⅲの6を参照)。

### (4) 治験の更なる効率化について

日本の治験環境は海外と比べて実施しにくい側面があるとされ、また近年では分散型治験<sup>(129)</sup>など新たな形態の治験が実施されていることから、「治験エコシステム<sup>(130)</sup>」の導入を検討した。具体的には、①中央IRBの活用促進(原則として中央IRBによる審査が望ましい点を文書化する方向性を含む)、②治験費用の算定方法の合理化(業務量や市場価格に基づいた算定の導入の実現性を含む)、③治験運用の更なる合理化について、厚生労働省・PMDA・製薬業界などにおいて、医療関係者との議論や患者・薬害被害者からの意見聴取も交えつつ検討を進めることとした<sup>(131)</sup>。

### (5) 薬事承認における日本人データの要否について

現行の制度においては、国際共同治験に参加する前に日本人を対象とした第I相試験の実施を必要とするが、これを変更し、国際共同治験で検討される用法・用量が日本人治験参加者に適用された場合の安全性・忍容性が説明でき、かつ安全性が臨床的に許容・管理可能である場合、原則として日本人での第I相試験を追加実施する必要はないこととした。本件は令和5(2023)年12月25日に厚生労働省から関連通知等が発出され<sup>(132)</sup>、既に実施済みである。なお、日本人患者を対象とした臨床試験成績なしに承認申請を行うことが可能な場合については、以

<sup>(126)</sup> 重篤な疾患であって、有効な治療方法が乏しく患者数が少ない疾患等を対象とする医薬品について、日本での治験実施が困難であるか治験の実施に相当の期間を要する場合、検証的臨床試験の成績を求めることなく、市販後に必要な調査等を実施することを条件として製造販売承認を行う制度。

<sup>(127)</sup> 「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」前掲注(117), p.23.

<sup>(128)</sup> 「「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正について」(令和6年10月23日医薬審発1023第2号)厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T241024I0010.pdf>>

<sup>(129)</sup> 分散型治験(Decentralized Clinical Trial: DCT)とは、患者が医療機関に来院せず、スマートフォンやウェアラブル端末を使って臨床試験に臨む方法を指す。

<sup>(130)</sup> 国民に迅速に治療薬を届けるため、製薬企業、医療機関、規制当局、被験者等、あらゆるステークホルダーが協力し、効率的に治験を行うシステム。

<sup>(131)</sup> 「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」前掲注(117), pp.24-26.

<sup>(132)</sup> 「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」(令和5年12月25日医薬審発1225第2号)厚生労働省ウェブサイト <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8153&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8153&dataType=1&pageNo=1)>; 「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方についての質疑応答集について」(令和5年12月25日事務連絡)同 <[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc8154&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8154&dataType=1&pageNo=1)>



下が例示されている<sup>(133)</sup>。

- ①海外で既に主たる評価の対象となる臨床試験が適切に実施されている場合（臨床試験ではなく、症例報告やリアルワールドエビデンス<sup>(134)</sup>等に基づいて承認されている場合も含む）。
- ②極めて患者数が少ないこと等により、追加の臨床試験の実施が困難な場合（臨床試験の実施の困難性は、必ずしも患者数のみによって判断されるものではなく、重篤性等の適応疾患の特性、アンメット・メディカル・ニーズの高さ等に基づいて総合的に判断する）。
- ③得られている有効性・安全性に係る情報等から、日本人におけるベネフィットがリスクを上回ると見込まれる場合。

### 3 PMDA におけるドラッグ・ロス対策の取組

PMDA は、薬事規制検討会でも紹介されていた海外への情報発信に係る事業（表3を参照）を含め、表4に示すドラッグ・ロス対策に取り組んでいる<sup>(135)</sup>。

表4 PMDA のドラッグ・ロス対策（海外への情報発信等）

事業	概要
小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置	<ul style="list-style-type: none"> <li>○令和6（2024）年7月1日、小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために設置した。以下を行う。 <ul style="list-style-type: none"> <li>・小児用医薬品開発計画確認相談（成人用医薬品の開発期間中に小児用医薬品の開発計画を確認する）。</li> <li>・希少疾病用医薬品優先審査品目<sup>(注1)</sup>該当性相談（開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価する）。</li> <li>・医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品に対し、主たる治験の試験デザインや承認申請用の資料作成に関する指導及び助言を行う）。</li> </ul> </li> </ul>
治験エコシステムの早期導入の推進	<ul style="list-style-type: none"> <li>○治験環境の改善に積極的に取り組む事業実施機関（3施設程度）を公募・選定し、事業実施機関と協力して医療機関の治験実施体制の現状を把握し、優先して改善すべき課題を特定する。事業実施機関は複数の治験実施医療機関を対象に課題に関する実態調査及び意見交換会を行い、内容をPMDAにフィードバックする。</li> </ul>
海外での情報発信強化	<ul style="list-style-type: none"> <li>○令和6（2024）年11月1日にアメリカ事務所をワシントンD.C.に立ち上げた<sup>(注2)</sup>。今後、在米の個別スタートアップ企業への情報発信や開発相談を実施予定である。</li> <li>○医薬品国内開発伴走事業（バイオテック・コンシェルジュ事業の拡充）により、アメリカ等において、英語で日本の薬事制度の情報発信、薬事の相談対応を無料で行う予定である。</li> <li>○アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターにおいて、アジア規制当局担当者に対する薬事規制制度に関するセミナー・研修を引き続き実施する。</li> </ul>

(注1) 希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品で優先審査に該当すると認められた品目については、できるだけ早く医療の現場に届けられるよう、他の医薬品に優先して承認審査を受けることができる。

(注2) PMDA「PMDA 米国初の海外拠点としてワシントンD.C.事務所を設立」2024.11.1. <<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0076.pdf>> による。

(出典) PMDA「PMDA に関する最近の動き」（令和6年度第1回運営評議会 資料1-3）2024.6.14, pp.2-6. <<https://www.pmda.go.jp/files/000269481.pdf>>; 「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」2024.4.24, pp.34-35. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>> を基に筆者作成。

(133) 「希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方について」（令和6年10月23日医薬薬審発1023第3号）厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T241024I0020.pdf>>

(134) リアルワールドデータ（臨床現場で日常的に得られる匿名化された医療データ）の解析から得られた、医薬品に関する臨床的なエビデンス。

(135) 「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」前掲注(133), pp.34-35; PMDA「PMDA に関する最近の動き」（令和6年度第1回運営評議会 資料1-3）2024.6.14, pp.2-6. <<https://www.pmda.go.jp/files/000269481.pdf>>; 同「PMDA 米国初の海外拠点としてワシントンD.C.事務所を設立」2024.11.1. <<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0076.pdf>>

#### 4 薬価制度改革における検討

中医協は、令和5（2023）年12月20日、日本の創薬力強化とともにドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消を実現するため、革新的新薬のイノベーションの適切な評価を推進する薬価上の措置を行うことなどを基本とする令和6（2024）年度薬価制度改革の骨子について了解した<sup>(136)</sup>。主な内容を表5に掲げる。

表5 令和6（2024）年度薬価制度改革の骨子（ドラッグ・ロス対策に関連する主な事項）

事業	概要
日本への早期導入に関する評価	「迅速導入加算」の導入：欧米に遅れることなく日本国内で上市した新薬に対して新たに導入する。加算の要件は、①国際共同治験が実施されているか、海外と同時又は先行して日本で治験が実施されていること、②医薬品医療機器等法における優先審査項目 <sup>(注1)</sup> とされていること、③欧米での最も早い承認申請から6か月以内に日本で承認されていることなど。
新薬創出・適応外薬解消等促進加算 <sup>(注2)</sup> の見直し	日本で積極的に新薬開発に取り組む企業に加算する「企業指標」は、企業の規模に依存するところがあり、ベンチャー企業やスタートアップ企業では高いポイントを得られにくいいため、廃止する。
新薬の薬価収載時における評価	有用性系加算の定量的評価の評価項目に新項目を追加する <sup>(注3)</sup> 。
新薬の薬価改定時における評価	薬価改定時の加算に関して、複数の効能追加がなされた場合、追加された効能ごとに加算の該当性を判断し、現在、併算定を認めていないものについて、併算定を認めることとする（改定前薬価の1.20倍を上限とする。）。
小児用の医薬品に関する評価	①小児用医薬品の評価充実：小児加算の加算率をより柔軟に判断する。また小児の効能・効果、用法・用量が明確であり、小児加算による評価対象となり得る品目は、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の品目要件に追加する。 ②成人用医薬品の開発時に企業判断で小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAの確認を受けて開発を進め、小児適応が承認された場合、薬価収載時、薬価改定時及び市場拡大再算定適用時における小児加算の加算率をより高く評価する。
市場拡大再算定の見直し	市場拡大再算定 <sup>(注4)</sup> における類似品の取扱いを見直す。特に、特定の領域では類似薬であっても品目によって効能が様々であり、効能が1つでも重複すれば類似薬として再算定の対象となる状況があることを踏まえ、あらかじめ中医協で領域を特定し、当該領域については類似品としての再算定の適用を除外する。 ※令和6（2024）年度の四半期再算定から適用される。特定すべき領域は今後中医協で議論。

(注1) 希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品のほか、適用疾病が重篤であるとされる品目や、既存の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品又は治療方法と比較して有効性又は安全性が医療上明らかに優れているとされる品目で、優先審査に該当すると認められた医薬品については、優先的に承認審査が行われる。

(注2) 革新的な新薬の創出を加速させることを目的とし、厚生労働省から開発要請・公募された品目等の開発に取り組んでいる製薬企業が製造販売する新薬（後発医薬品が上市されていないもの）に対して、市場実勢価格に基づく薬価の引下げを猶予する制度。

(注3) 有用性系加算とは、画期性加算（①臨床上有用な新規の作用機序を有すること、②類似薬に比して有効性又は安全性が高いことが客観的に示されていること、③対象疾病・負傷の治療方法が改善されることが客観的に示されていること、の3要件を満たす医薬品に対する加算）及び有用性加算（画期的医薬品の要件を部分的に満たす医薬品に対する加算）を指す。令和6（2024）年度薬価制度改革においては、有用性系加算を算出するに当たって、イノベーションの評価を拡充するための評価項目が追加された。

(注4) 年間販売額が予想販売額の一定倍数を超えた場合等、薬価改定時に価格を更に引き下げる制度。

(出典)「令和6年度薬価制度改革の骨子（案）」（中央社会保険医療協議会薬価専門部会（第221回）資料薬-1）2023.12.20. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001180531.pdf>> を基に筆者作成。

(136) 「令和6年度薬価制度改革の骨子（案）」（中央社会保険医療協議会薬価専門部会（第221回）資料薬-1）2023.12.20. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001180531.pdf>>

## 5 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」における検討

内閣官房においても、ドラッグ・ロスの発生や医薬品の安定供給等の課題に対応するための創薬力強化の検討を目的として「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」（以下「構想会議」）が令和5（2023）年12月に設置され<sup>(137)</sup>、令和6（2024）年5月22日の第5回会議において「中間とりまとめ」が確定した<sup>(138)</sup>。

中間とりまとめが掲げたドラッグ・ロスに関する施策は「国民に最新の医薬品を迅速に届けるための施策」と題する章として取りまとめられており、その概要を表6に示す。なお、中間とりまとめにおける創薬力の強化に関する施策については、IVで述べる。

表6 構想会議中間とりまとめのうち「国民に最新の医薬品を迅速に届ける」ための施策の概要

趣旨	項目	施策
新薬が開発されにくい分野や原因を把握しつつ、薬事規制の見直しや運用の改善、国際的な企業への働きかけも含め、積極的な施策を講じていくことが求められる。	薬事規制の見直し	○薬事規制検討会で方針が示された見直しについて確実な実行、運用を進める。また、その内容を英語等で海外に積極的に発信する。
	臨床研究及び治験環境の改善	○国際レベルの治験・臨床試験が実施できる体制強化を行う。 ○具体的な取組：①FIH <sup>(注1)</sup> 試験実施体制の整備、②臨床研究中核病院の承認要件の見直し <sup>(注2)</sup> 、③国際共同治験・臨床試験の推進、④治験・臨床試験業務に従事する人材の育成・キャリアトラック整備、⑤多施設共同治験でのsingle IRB <sup>(注3)</sup> の原則化、⑥国内外の治験ネットワークの強化、⑦分散型治験の推進、⑧製造販売後モニタリング <sup>(注4)</sup> におけるファーマコビジランス体制 <sup>(注5)</sup> の強化、⑨治験・臨床試験情報の公開と国民の理解促進。
	小児・難病・希少疾病用医薬品の開発促進	○成人を対象とした医薬品の承認申請を行う場合、企業が併せて小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAの確認を受けるよう促す。 ○PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターにおける相談費用を減免することにより、企業へのインセンティブを付与。 ○希少疾病用医薬品の指定について、臨床試験の結果を待たず早期の指定を可能とする見直しの確実な運用を進める。 ○既にドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスを生じた医薬品については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における評価、開発要請等を加速化。 ○PMDAの組織・人管理体制の強化を目指す。
	待ちの規制からプロアクティブな規制へ	○各種英語対応の推進、国際的な審査協同の枠組みへの積極的参加など国際化を進める。 ○新設されるPMDAワシントンDC事務所を拠点とし、日本の薬事規制の取組について海外のスタートアップ等へ周知。

(注1) FIH (First-in-Human) とは、医薬品の第I相臨床試験において人間に初めて投与することを指す。

(注2) 臨床研究中核病院の承認要件や更新要件について、創薬への貢献度をより評価するための見直しを行う。

(注3) 欧米では単一の治験審査委員会 (single IRB) による審査が一般的とされる。

(注4) 医薬品の製造販売企業は、販売後も引き続き製品の品質や有効性・安全性を監視し、厚生労働省に報告する義務を負う。

(注5) ファーマコビジランス (Pharmacovigilance) とは、医薬品の有害事象の情報収集、安全性の分析・評価などを通じた医薬品安全性監視を指す。

(出典) 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ—世界の人々の健康に貢献するトップレベルの創薬の地を確立する—」2024.5. 内閣官房ウェブサイト <<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/pdf/chuukantorimatome.pdf>> を基に筆者作成。

(137) 「骨太の方針 2023」には、創薬力強化について「新規モダリティへの投資や国際展開を推進するため、政府全体の司令塔機能の下で、総合的な戦略を作成する。」とあり、この方針に基づいて設置されたものである。「経済財政運営と改革の基本方針 2023」前掲注(14)、pp.38-39。

(138) 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ—世界の人々の健康に貢献するトップレベルの創薬の地を確立する—」2024.5. 内閣官房ウェブサイト <<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/pdf/chuukantorimatome.pdf>>

政府はこの中間とりまとめを踏まえ、創薬エコシステム育成施策の方針や進捗状況について企業のニーズも踏まえた議論や検討を行うため、令和7（2025）年度に官民協議会を設置する予定としている<sup>(139)</sup>。同協議会の設置に先立ち、政府は令和6（2024）年7月30日、官民が協力し継続的に連携してエコシステムの発展に取り組むことを確認することを目的とした「創薬エコシステムサミット」を開催し、日本の創薬力向上に向けた政策目標と工程表を発表した<sup>(140)</sup>。

ドラッグ・ロスに関連する主な政策目標を表7に示す。

表7 ドラッグ・ロス対策に係る政府の主な政策目標

項目	現状／実績	目標
ドラッグ・ロスを生じている医薬品の開発着手	86品目が未着手	必要な医薬品の開発着手 (2026年)
希少疾病用医薬品の指定件数	151件 (2018-2022年度累積)	200件 (2024-2028年度累積)
小児用医薬品の開発計画の策定件数	—	50件 (2024-2028年度累積)
国際共同治験の初回治験計画届件数	100件 (2021年)	150件 (2028年)
整備した施設における国内FIH試験実施件数	0件 (2023年)	10件 (2028年)
ワンストップ窓口への国際共同治験の相談件数	0件 (2023年)	年間15件 (2028年)

(注) 出典に記載がないものは「—」とした。

(出典) 内閣官房健康・医療戦略室「「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表」(創薬エコサミット 資料1) 2024.7. 内閣官房ウェブサイト <[https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/1-1\\_j.pdf](https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/1-1_j.pdf)> を基に筆者作成。

## 6 医薬品医療機器等法の改正の検討

厚生労働省厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会は、令和6（2024）年4月18日、医薬品医療機器等法の改正に向けた審議を開始した。同部会は主要テーマの1つに「ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立」を掲げて検討を行っており、同年10月3日の令和6年度第7回部会において、医薬品医療機器等法の審査関連規定の改正について表8に掲げる方向性<sup>(141)</sup>を了承した。その後、改正案は令和7（2025）年2月12日の閣議で決定された。

(139) 「創薬エコシステムサミット（2024年7月30日開催）開催趣旨」内閣官房ウェブサイト <[https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/ecosummit\\_purpose.pdf](https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/ecosummit_purpose.pdf)>

(140) 内閣官房健康・医療戦略室「「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表」(創薬エコサミット 資料1) 2024.7. 内閣官房ウェブサイト <[https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/1-1\\_j.pdf](https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/1-1_j.pdf)>

(141) 厚生労働省医薬局「テーマ①（ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立）について」(厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 資料1) 2024.10.3. <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001311521.pdf>>

表8 ドラッグ・ロス対策に関連する医薬品医療機器等法の改正案（令和7（2025）年2月12日時点）

論点	方向性
小児用医薬品のドラッグロス解消に向けた制度的対応	①小児用医薬品に係る制度の見直し ・医療用医薬品の承認申請時に、小児用医薬品の開発計画を策定することを努力義務化する。 ・小児用医薬品の再審査期間 <sup>(注1)</sup> の上限について、10年から12年に引き上げる。 ②特定用途医薬品指定制度の見直し ・特定小児用医薬品等の開発を支援する特定用途医薬品指定制度の対象について、用量追加や剤形追加の申請区分だけでなく、新有効成分等の申請区分も対象とする。 ・特定医薬品の再審査期間については、現在は4年以上6年未満となっているが、申請区分に応じて期間が設定されるよう見直す。
医療上の必要性の高い医薬品等への早期アクセスの確保	○条件付き承認制度の取消規定の新設 ・条件付き承認制度には取消規定がないため、欧米の制度と比べて承認のハードルが高く、承認件数が少ないことを踏まえ、条件付き承認制度に取消規定を設ける。その上で、探索的試験の段階で医薬品等を早期に承認するベネフィットが、検証的試験が必要であることによるリスクを上回るものに対し、その臨床的有用性が合理的に予測可能な場合に、承認を与える制度を設ける。 ※拡大治験 <sup>(注2)</sup> の運用改善については、手続を簡素化することにより実施できるよう省令の改正等の検討を進める。
リアルワールドデータ（RWD） <sup>(注3)</sup> を活用した薬事申請対応の充実強化	○リアルワールドデータ（RWD）を活用した薬事申請が可能であることを明確化。 ・現行の医薬品医療機器等法では、医薬品等の承認申請に当たって「臨床試験の試験成績に関する資料その他の資料」の添付が必要と定めているが、これを「医薬品の品質、有効性及び安全性に関する資料」とするなど、より一般的な規定に改正する。その上で、省令によってRWDによる申請が可能であることを明示する。

(注1) 新薬は承認から一定期間が経過した後、企業が実際に医療機関で使用されたデータをPMDAに提出し、承認された効能効果、安全性についてPMDAが再確認する。

(注2) 生命に重大な影響があり、既存の治療法に有効なものがない疾患の治療のため、治験の参加基準に満たない患者に対し、治験の枠組みで未承認薬等を臨床使用する制度。

(注3) 臨床現場で日常的に得られる匿名化された医療データを指す。

(出典) 厚生労働省医薬局「テーマ①（ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立）について」（厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 資料1）2024.10.3. <<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001311521.pdf>>; 「薬機法見直し議論スタートドラッグロスなど課題に」『薬事日報』（特集号）2024.7.1; 「薬機法改正、審査の7論点を了承 制度部会、条件付き承認の見直しなど」『日刊薬業』2024.10.4; 厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会「薬機法等制度改正に関する取りまとめ」2025.1.10. 厚生労働省ウェブサイト <<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001371285.pdf>> 等を基に筆者作成。

## IV 政府による対策（2）日本の製薬企業の創薬力を強化するための施策

Ⅲの1で述べた有識者検討会は、報告書において、日本の創薬力の低下を課題として取り上げ<sup>(142)</sup>、実効性のある取組の必要性を指摘し、対策の方向性を掲げている<sup>(143)</sup>。また、Ⅲの5で述べた構想会議は、中間とりまとめにおいて、「創薬力の強化」及び「投資とイノベーションの循環的発展が継続出来る社会システム」について、多岐にわたる施策を打ち出している<sup>(144)</sup>。これらのうち、構想会議による施策を表9に示す。

さらに、令和7（2025）年2月12日に閣議決定された医薬品医療機器等法改正案においては、創薬スタートアップ企業の立ち上げ支援や研究施設整備費用の補助に充てるための「革新的医薬品等実用化支援基金」の創設が盛り込まれた。

(142) 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 前掲注(110), pp.9-12.

(143) 同上, pp.27-29.

(144) 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ」前掲注(130), pp.4-15, 19-21.

表9 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」 中間とりまとめのうち「創薬力の強化」等のための施策の概要

創薬力の強化		
趣旨	項目	施策
創薬エコシステムを構成する人材、関連産業、臨床機能など全ての充実と発展に向け、国際的な視点を踏まえながら、総合的かつ現実的な対策を講じていく。	多様なプレイヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材	○海外の実用化ノウハウを有する人材や資金の積極的な呼び込み・活用。 ○外資系企業・ベンチャーも含む官民協議会の設置（政府・企業が政策や日本での活動にコミット）。 ○国内外のアカデミア・スタートアップと製薬企業・ベンチャーキャピタル（VC）とのマッチングイベントの開催。
	新規モダリティ医薬品の国内製造体制	○医薬品開発製造受託企業（CDMO）に対する支援強化とバイオ製造人材の育成・海外からの呼び込み。 ○国際レベルのCDMOとFIH試験実施拠点の融合や海外拠点との連携。
	アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成	○AI、ロボティクス、再生医療などの取組の創薬シーズへの活用。 ○アカデミアにおけるグローバル人材の受入れ。人材育成の観点も含めた薬学教育の見直し。 ○研究者のイノベーション創出に向けた知財・ビジネス戦略の確立。 ○医療DXやAI利用による効率化、大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備を推進。 ○AMEDの研究開発支援の在り方の検討。
	リアルワールドデータの二次利用の推進	○仮名化情報 <sup>(注1)</sup> の利活用の推進。 ○研究者や企業等のデータベースを一元的に利用できる情報連携基盤の構築。
投資とイノベーションの循環的発展が継続出来る社会システム		
趣旨		施策
患者のニーズの多様化や新技術の導入などに対応し、広義の医療市場全体を活性化するとともに、医薬品市場が経済・財政と調和を保ち、システム全体が持続可能なものとなることが重要。中長期的な視点から議論を継続。	革新的医薬品の価値に応じた評価	○令和6年度薬価制度改革の妥当性の検証を踏まえ、革新的新薬の薬価の在り方について中医協で引き続き議論を行う。
	長期収載品 <sup>(注2)</sup> 依存からの脱却等	○グローバルな創薬エコシステムの育成支援と革新的新薬の評価に伴う製薬企業のビジネスモデルの転換。 ○スイッチOTC、セルフケア・セルフメディケーションを推進。 ○新技術については公的保険に加え民間保険を活用。
	バイオシミラー <sup>(注3)</sup> の使用促進	○医師及び保険者向けに、バイオシミラーの認知度向上や使用促進を図る。
	ヘルスケア分野のスタートアップへの支援強化	○マイルストーン型開発支援 <sup>(注4)</sup> の活用など、ヘルスケア市場の特性を踏まえたスタートアップ支援策を推進。

(注1) 個人情報加工して、氏名・住所など単体で直接個人を特定できる情報を削除し、他の情報と照合しない限り個人を識別することができないようにした情報。

(注2) 再審査期間が終了し、特許も切れ、後発医薬品が存在する先発医薬品を指す。患者の要望や医療上の理由から後発品への置換えが進まず、薬価基準に長期間収載されているため、長期収載品と呼ばれる。

(注3) バイオ後続品。国内で既に承認された先行バイオ医薬品と同等又は同質の品質、安全性、有効性を有する医薬品として、異なる製造販売業者によって開発される医薬品。

(注4) 段階的に設定された目標を達成するごとに追加で補助金を拠出する枠組み

(出典) 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ—世界の人々の健康に貢献するトップレベルの創薬の地を確立する—」2024.5. 内閣官房ウェブサイト <<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/pdf/chuukantorimatome.pdf>> を基に筆者作成。

## おわりに

これまで見てきたとおり、ドラッグ・ロスは、日本にとって必要な医薬品が永久に入手できない可能性を有するという点において極めて大きな問題であり、その対策は喫緊の課題となっている。一方、現在国内で開発未着手となっている医薬品の中には、日本の患者にとって必ずしも導入の緊急性が高くない品目が含まれているとの指摘があり<sup>(145)</sup>、ドラッグ・ロスという言葉と数字が独り歩きしないよう、慎重な検討が必要であるとの意見も出されている<sup>(146)</sup>。患者にとって本当に必要な品目は何かを常に念頭に置きつつ、引き続き対策の検討及び実施を進めることが求められよう。

ドラッグ・ロス対策の一環として政府が実現しようとしている創薬エコシステムの構築は、製薬業界の産業構造の根本的な変革を意味する。また、政府が掲げた政策目標を実現するためには、官民の密接な連携による多大かつ持続的な努力が必要とされよう。既に実施されている施策の評価、第217回国会において上程された医薬品医療機器等法改正案を始めとする新たな施策の検討・実施、令和7（2025）年度に設置される官民協議会を通じた施策の推進が、いかなる成果として現れるか、今後の動向を注視したい。

（すずき ともゆき）

<sup>(145)</sup> 柴木憲和「ドラッグロス・ラグ対策、まずは中身の精査を」『医薬経済』2024.10.15, p.3; 栗村眞一郎ほか「希少疾病用医薬品（Orphan drug）の開発動向—FDAで承認されたOrphan drugの日本での開発状況の分析—」『政策研ニュース』No.59, 2020.3, p.23. <<https://www.jpma.or.jp/opir/news/059/pdf/pdf-04-01.pdf>>

<sup>(146)</sup> 望月英梨「創薬ベンチャーの台頭がもたらすビジネス転換—産業界は環境変化に応じたシフトチェンジを—」『ミクス』694号, 2023.10, p.10.