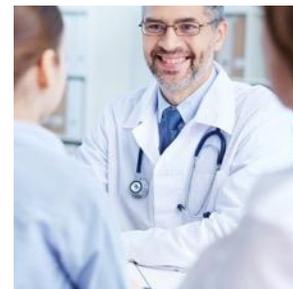


# 革新的医薬品等の創出のための官民対話

2022年6月14日



欧州製薬団体連合会



# 日本の患者さんにいち早く革新的な医薬品とワクチンを届けるために

## EFPIAが考える現状

- 薬価改定に頼って医療費の伸びを圧縮する手法では、「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」のバランスを保つことは困難
- 市場の成長性と薬価制度の予見性の低下によって、日本に対する投資の優先順位が低下

## 日本国民の健康長寿への貢献に向けた優先事項

- 最先端・高品質の製品をいち早くかつ安定的に日本国民に提供するために、産業再強化と環境整備が必要
- 長期的な投資を可能とするために、市場・制度の予見性確保により世界的に魅力的な市場をつくる必要がある
- 研究・開発・製造・供給における日本への貢献を考慮した内・外資の区別が無い産業政策が必要

### 研究開発・薬事規制環境の改善

- シーズの起源に拘らない国の支援
- 治験環境の改善
- 規制の国際調和の推進
- 薬事承認 等

### 「国民皆保険の持続性」と 「イノベーションの推進」の両立

- 薬価制度の予見性・透明性確保
- イノベーション評価の強化
- 費用対効果評価制度の見直し
- 流通改善と薬価制度の整合性
- ワクチン事業の予見性向上（定期接種化）等

### 医療の質と効率性の確保

- 医薬品・ワクチンの社会や健康への貢献、産業について、官民の協力のもと国民に周知
- 医療提供体制効率化のためのデジタル化
- 医薬品安定供給確保のための人材育成 等

# 革新的医薬品創出推進に向けてのEFPIAからの提案

## “オープンな日本型エコシステム”の構築

革新的医薬品を創出し日本の患者さんに一日でも早く届けることを目的に、**アカデミア・ベンチャーからのシーズの起源や、開発・承認取得を行う製薬会社の国籍に拘らない国際的に“オープンな日本型エコシステム”の構築**を提案する。

## 検証的臨床試験の主要な成績に基づき新薬承認の審査を開始する制度の導入

革新的医薬品が欧米から遅れることなく日本でも承認取得されるために、既に**米国で導入されている検証的臨床試験の主要な成績に基づき新薬承認の審査を開始する制度を導入**し、正式な承認申請から承認までの期間をより短縮することを提案する。

## 臨床研究中核病院と産業側の連携推進の場の設置

日本において今後も革新的医薬品の開発を継続するために、国際的に比較しても効率的な治験オペレーションの実現が不可欠である。効率化に向けて**例えば、DCTの導入、症例集積能力の向上やIRBの集約**といったことについて議論を行うことを提案する。

## 革新性の高い医薬品開発での産官学連携を促進する議論の場の設置

アカデミアの役割が大きく・重要な再生医療品等の革新性の高い医薬品開発を迅速に進めるために、**アカデミアに対する官による技術面の支援制度の充実、規制要件や開発ガイドラインの検討段階から産官学で連携して議論する場を設ける**ことを提案する。

# グローバルでも日本の医薬品市場の魅力を維持するために

イノベーションが適切に評価されることが、更なるイノベーション創出に繋がる。  
医薬品産業ビジョンの推進とともに、「イノベーション評価の強化」について継続的に議論することを求める。

## 具体的に検討すべき項目

「国民皆保険制度の持続性」と  
「イノベーションの推進」の両立

薬価制度の  
予見性確保

- 頻繁なルール改定の是正とルール改定から実施までの期間の是正  
(2016年以降3回の改定で56項目のルール改定、12月決定で4月実施)
- 中間年改定の対象範囲の見直し
- 特許期間中の医薬品の薬価水準の維持

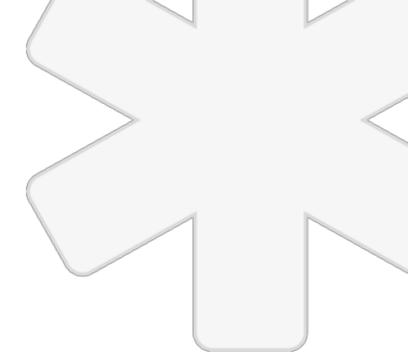
イノベーション評価  
の強化

- 新薬創出加算におけるイノベーションの評価の拡充  
(急な運用見直しの是正、対象品目の拡充)
- 市販後に得られたエビデンスに基づく有用性評価

費用対効果評価  
制度の見直し

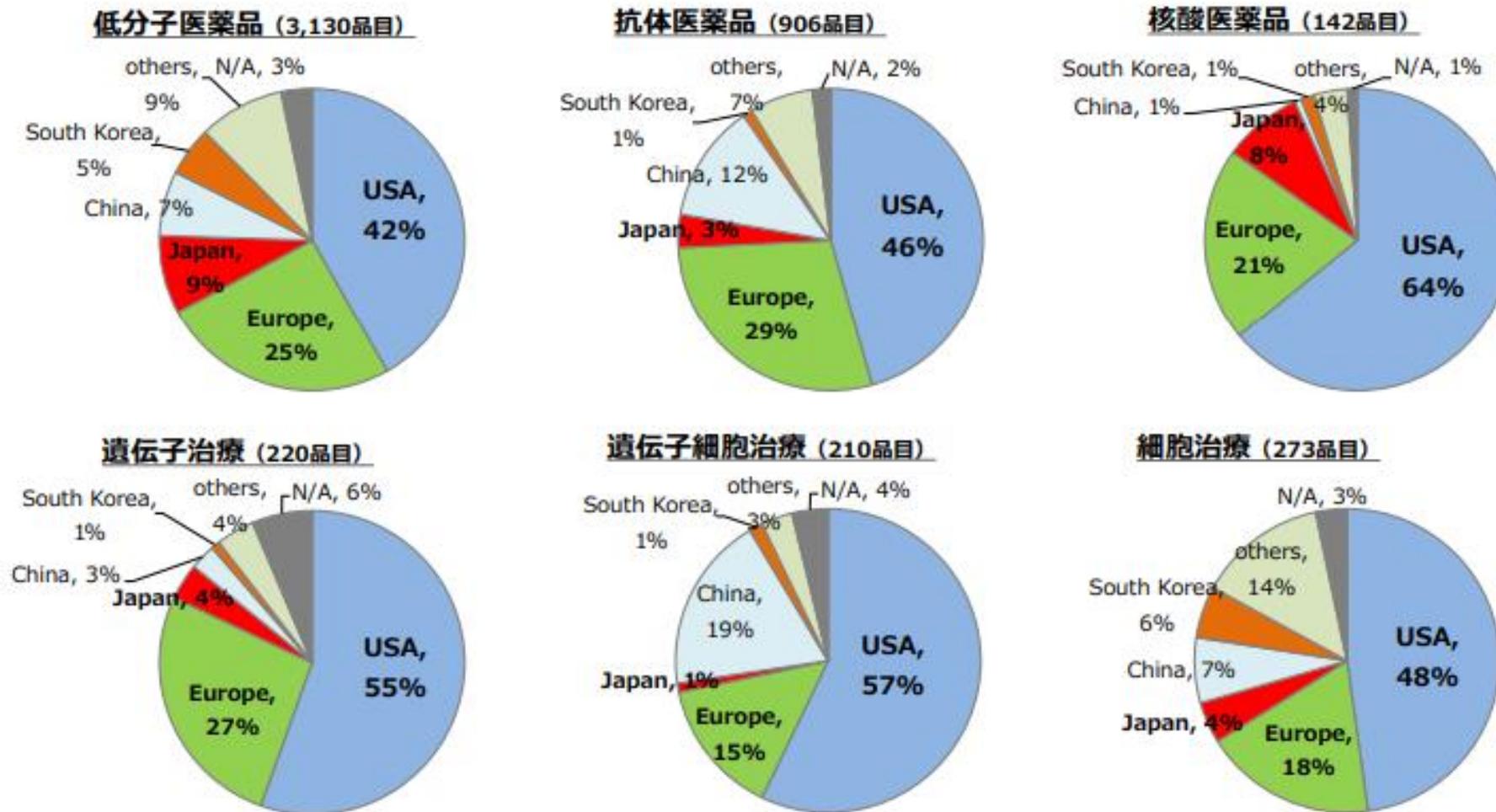
- 希少疾患(指定難病を含む)に対する医薬品・再生医療等製品は費用対効果評価から除外する原則の徹底
- 追加適応に対する費用対効果評価の除外

# 参考資料



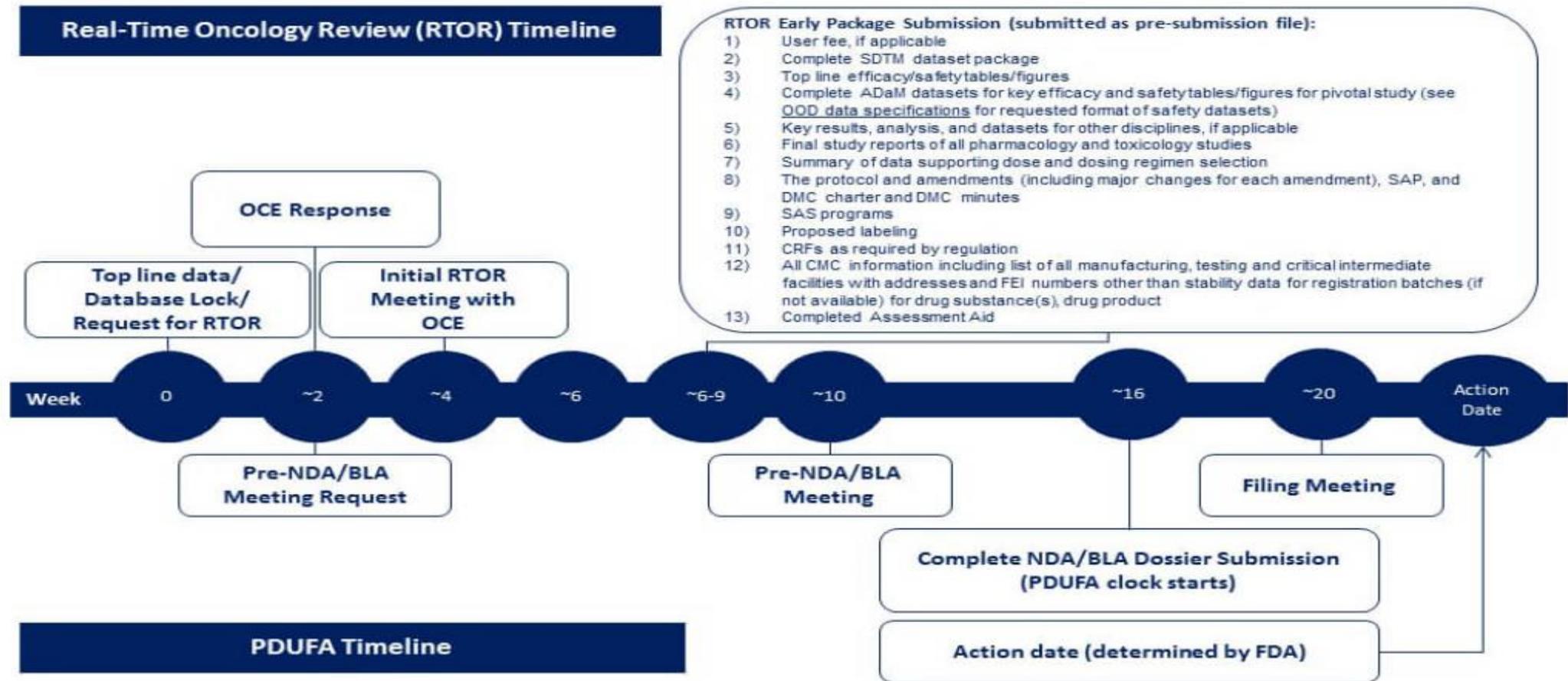
# 遺伝子治療、遺伝子細胞治療、細胞治療等の革新性の高い医薬品のOriginatorは広く世界に存在している

図6 医薬品開発パイプラインのOriginator 国籍内訳



# FDAで導入された Real-Time Oncology Review (RTOR) program

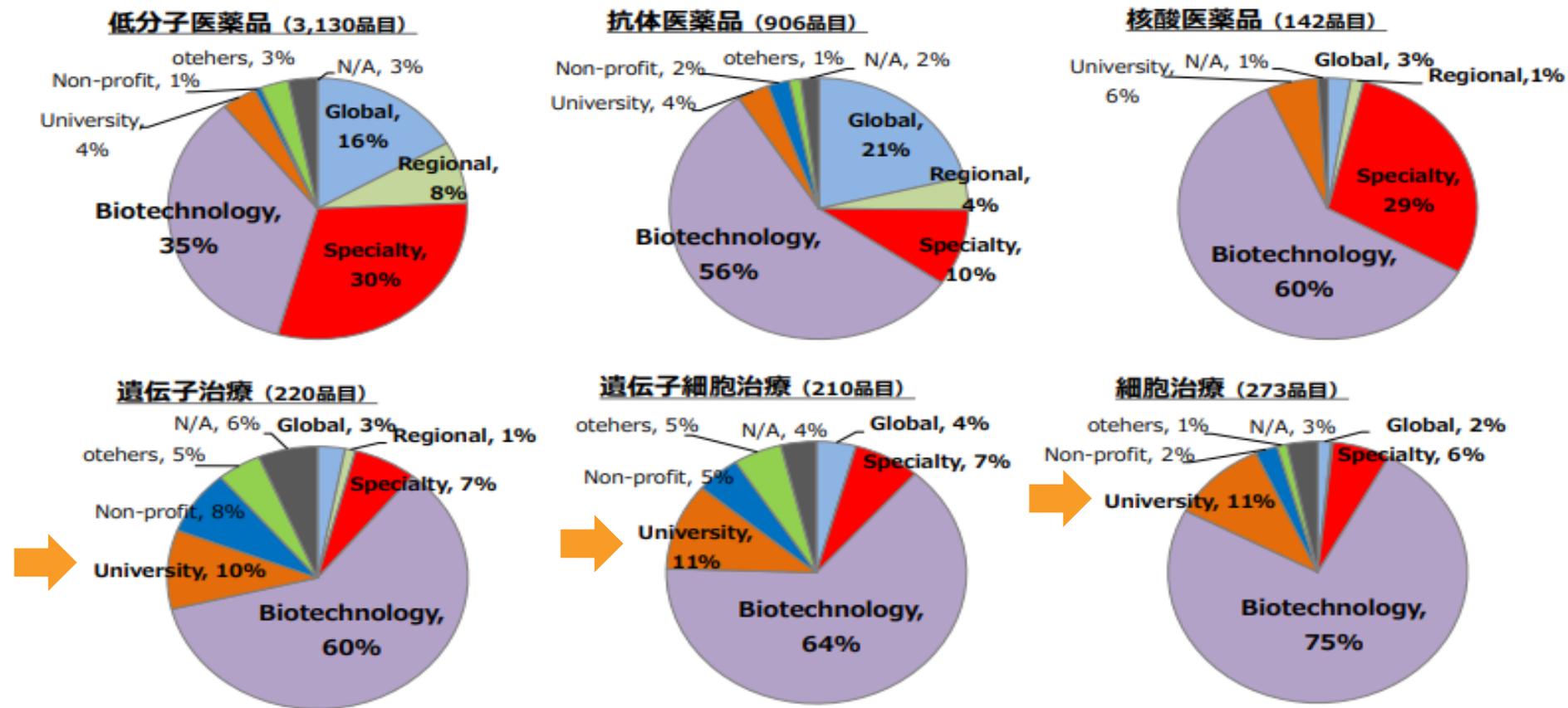
Figure 1. General RTOR Timeline



\* The diagram reflects a general timeline suggestion. Companies should discuss with FDA their submission proposal.

# 遺伝子治療、遺伝子細胞治療、細胞治療等の革新性の高い医薬品ではアカデミア(University)の寄与が大きい

図7 開発パイプラインの Originator 企業分類内訳



N/A : not available

出所 : Evaluate 社の EvaluatePharma®のデータを基に作成 (2020/9)