

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  
企業の開発計画・意思決定の変容について

2024年12月11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

## 薬価制度改革に対する見解および開発計画・意思決定の変容

### 2024年度薬価制度改革に対する3団体の見解

2024年度の薬価制度改革は、イノベーションの評価・促進という製薬業界のこれまでの主張を踏まえていただいたものと認識しております。我々は、制度改革以前から革新的新薬を日本国民の皆様へ届けるための努力を積み重ねてまいりましたが、国内外の製薬企業とともに、今回の改革を日本が患者さんの新薬へのアクセスの改善を可能とするイノベーション重視の国に変貌を遂げる始まりに位置付けられると受け止めています。様々な立場からご尽力いただいた皆様に改めて敬意を表します。

### 確認された開発計画・意思決定の変容

今回の薬価制度改革を機に、日米欧製薬3団体の傘下企業の日本国内での開発に向けた開発計画・意思決定の変容を以下の通り確認しました。

先に報告したアンケート結果によれば、多くの企業で今回の制度改革を前向きに捉え、日本での開発計画を前向きに見直す、あるいは見直す予定であるとの事が確認されました。

今回さらに、日本国内への早期上市を促進すべく、開発品の検討体制・プロセスを見直した企業も新たに確認できたと共に、実際に既に日本における開発計画の再検討を実施したり、また国内開発を決定した事例も確認されました。

## 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

- ① 早期上市に向けたルール・体制整備
  - ✓ 優先審査の対象となることを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
- ② 小児開発の積極的検討のルール化
  - ✓ 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
- ③ 過去に開発を見送った製品の再検討
  - ✓ 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

(上記事例の詳細およびその他の事例 5～6ページ)

### II 個別の医薬品について開発計画を再検討

- ① 申請・上市時期の前倒しの検討
  - ✓ 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
- ② 小児開発の検討
  - ✓ 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、「グローバルの開発の委員会において、日本での開発に関する審議を実施予定」となった

(上記事例の詳細およびその他の事例 7ページ)

### III 個別の医薬品について国内開発を決定

- ① 開発予定がなかった製品の開発決定
  - ✓ 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
- ② 外国企業からの国内導入契約を締結
  - ✓ 国内開発に係る期間・費用および事業性を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
- ③ 国内小児適応の開発実施を決定
  - ✓ 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・説得を実施し、小児適応の開発を決定、PMDA相談の実施を予定している

(上記事例の詳細およびその他の事例 8～9ページ)

# Appendix

---

## ① 早期上市に向けたルール・体制整備

迅速導入加算の導入(それに伴う新薬創出等加算の適用含)などを受け、以下のような変革が行われている

### ★ 欧米から6か月以内のタイムライン内での開発検討を標準化

- これまで:各製品において海外との同時期の国内申請・承認の検討は個々にされていたが、欧米から6か月以内というタイミングまでは必ずしも意識されていなかった
- 変化後: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。この方針に沿って、個別製品の開発検討を進めていく
- 当初計画の申請タイムライン厳守の徹底
  - これまで:これまでも国内での早期上市を目指してはいたものの、早期に国内開発を進めることが困難と考えられる事情あるような場合には、開発の実現可能性を優先し、申請までのタイムラインが後倒しされることがあった
  - 変化後:**迅速導入加算**の導入とその適用のインパクトが社内で広く浸透した結果、ある製品では当初のタイムライン内での開発を厳守するよう社内で意思決定がされた。他の製品も、迅速導入加算適用を目指すことをデフォルトとして検討中

## ② 小児開発の積極的検討のルール化

小児用医薬品に対する評価の充実を受け、以下のような変革が行われている

- これまで:社内の開発会議体において、小児開発までは必ずしも検討されておらず、個別製品で小児開発の可能性がありそうなもののみが検討されている状況であった
- 変化後:
  - ★ 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
  - 開発検討の際は、小児を対象とすることも積極的に検討することを社内の標準ルールとして設定。併せて、小児開発において検討すべき事項の手順化を実施。
  - 年次で行う各パイプラインの開発計画のアセスメントにおいて、小児開発のニーズや可能性を再度確認することをルール化
  - 臨床試験実施の際は国内小児患者の組入れを併せて行うよう、日本法人からグローバルに申し入れ（全領域）  
(※ その結果、第3相国際共同治験に日本人小児患者の組入れを決定した製品あり)

## ③ 過去に開発を見送った製品の再検討

薬価制度改革による各種評価の充実を受け、以下のような変革が行われている

- これまで:開発の実施可能性や事業性は、一度検討・評価が実施された後、事後的に再レビューを行うような機会は限られていた
  - 変化後:
    - ★ 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
      - ☞ その結果、小児開発の国内実施を決定した製品あり
    - これまでも国内の小児開発に取り組む方針であり、専門の組織(※)を立ち上げる等してきたが、今回の薬価制度改革を受け、開発後期の製品すべてについて、小児開発の状況確認および小児開発の障害となっている事項が解決可能かの検討を改めて実施
      - ☞ その結果、小児開発に日本を含めるようグローバル本社と協議開始した製品あり
- (※)社内各部門の専門家が結集し、国内小児開発の課題解決を図る社内横断組織
- 過去に開発を断念した製品の再評価を実施
    - ☞ その結果、国内開発を進める方向で再検討中の製品あり
  - 以前導入を検討したものの導入に至らず、日本国内でドラッグ・ロスとなっている製品の事業性再評価を実施
    - ☞ その結果、導入元となる企業との再協議を予定している製品あり

### ① 申請・上市時期の前倒しの検討

#### ★ 希少疾病治療薬の国内申請・上市時期の前倒し

- これまで:グローバルの予算・人的リソースの制約から、欧米での申請を優先し、一定期間経過後に日本での申請を行うことを予定していた
- 変革要因:**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
- これから: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中

#### ● 抗がん剤の国内申請・上市時期の前倒し

- これまで:優先審査の対象とはなり得ても、先駆的医薬品や希少疾病医薬品の対象とならない製品は、薬価上の直接のインセンティブが存在しないことから、国内開発検討の優先順位が低くなる傾向にあった
- 変革要因:**迅速導入加算の導入**により、優先審査制度を活用する意欲が向上。欧米から6か月以内の申請・承認を志向するようになった。
- これから:優先審査・迅速導入加算の適用実現に向けて、申請までのスケジュールの短縮を実現するための計画策定を進めている

#### ● 国内申請・上市時期の前倒し(対象疾患非開示)

- これまで:国内第1相試験完了を待ってからの国際共同治験参加であった。また、日本の薬価に対するグローバル本社の期待値が低く、日本での申請が欧米やその他の国・地域より遅いタイミングとなっていた。
- 変革要因:**薬事制度改革**により国内第1相完了を待たずに第3相国際共同治験に参加できるようになったこと。**迅速導入加算の導入**による薬価へのインパクトの期待。
- これから:日本が早期に国際共同治験に参加する開発計画の具体化を進めており、年内にもグローバル本社にて日本での開発実施を決定見込み

### ② 小児開発の検討

#### ★ 希少疾病・指定難病治療薬の小児適応開発

- これまで:主に成人に多い疾患で、小児のケースは非常に稀であることから、小児適応の開発までは検討されてこなかった
- 変革要因:**小児用医薬品に対する評価の充実**を受け、社内パイプラインにおける小児適応の取得可能性と事業性の評価を実施。その結果、本製品では小児開発の可能性があることを確認。
- これから:グローバルの開発の委員会において、日本での本件開発に関する審議を実施予定

#### ● 希少疾病治療薬の小児適応開発

- これまで:希少疾病は国内小児患者数が限られ、治験への組入れができないリスクや事業性の課題があることから、グローバルでの小児開発に日本は積極的に参加しないことが一般的であった
- 変革要因:**小児用医薬品に対する評価の充実**によって本製品の小児適応の事業性改善が見込まれるようになったため、グローバルの開発への日本の参加を日本法人の経営会議で改めて検討・判断した
- これから:事業性改善や治験の実現可能性に関する日本法人の評価結果を踏まえ、グローバル本社側での事業性評価を進めていく

#### ● 小児適応開発(対象疾患非開示)

- これまで:小児開発の事業性の乏しさから、導入候補品の検討において小児開発までは視野に入れていなかった
- 変革要因:**小児用医薬品に対する評価の充実**が、小児開発の検討開始のきっかけに
- これから:小児も対象に含めた形で、導入交渉を進める予定

### ① 開発予定がなかった製品の開発決定

- ★ 抗がん剤など:開発元の企業(買収先)において国内開発が全く検討されていなかった製品の国内開発を決定
  - これまで:当社が買収を行った企業において日本での開発はスコープに含まれておらず、買収成立時点において、これら製品の日本での開発は一切計画されていなかった。
  - 変革要因:国内開発の可能性を買収後に検討開始していた中、①薬事制度改革により国内第1相試験完了を待たずに第3相試験を実施できるようになったこと、②それによって今回の薬価制度改革で創設された迅速導入加算の適用(それに伴う新薬創出等加算の適用を含む)が可能となり日本での事業性を期待できるようになったことが、グローバルのトップマネジメントの意思決定を後押し
  - これから:早期の国内承認取得に向けて、日本国内での具体的開発計画を策定中
- 抗がん剤:薬価上の懸念から国内開発が積極的に検討されていなかった製品の国内開発を決定
  - これまで:アンメット・メディカル・ニーズに対応する革新的製品であり、日本でもニーズがあるとは考えていたが、期待できる薬価を日本で取得できない可能性があることから、欧州での上市が優先され、日本での承認取得を目指した準備が進められずにいた
  - 変革要因:迅速導入加算適用の期待や、2024年度薬価制度改革以降に有用性系加算が適用される製品が増加していることが、日本での可能性に投資する意思決定を後押し
  - これから:早期の国内承認実現を目指し、策定中の開発計画のPMDA相談に向けた準備を進めている

### ② 外国企業からの国内導入契約を締結

- ★ 希少疾病用薬(米国で既に承認済):日本への導入契約締結を正式に決定し、締結をすでに完了
  - これまで:日本で開発を実施した場合の期間・費用および事業性を見極めに時間を要していた
  - 変革要因:薬事制度改革(日本人データの必要性の検討)・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、事業性が向上し、導入の意思決定を後押し
  - これから: PMDA相談等を行いながら、国内開発計画の具体化を進める
- 抗がん剤(米国で既に承認済):日本への導入契約締結を正式に決定し、締結をすでに完了
  - これまで:国内導入を検討するも、補正加算を取得できるかが不透明で、日本における事業性に懸念
  - 変革要因:有用性系加算の定量的評価の項目見直しによって補正加算を得られる可能性が向上し、事業評価がポジティブに転じた
  - これから:早期の国内承認取得を目指し、策定中の開発計画についてPMDA相談を実施する

### ③ 国内小児適応の開発実施を決定

- ★ 抗がん剤の小児適応:国内での追加効能の開発において小児までは対象にしないとしていた方針を転換し、小児開発を進めることに
  - これまで:小児がんの国内治験実施の困難さ、小児適応の事業性等を踏まえ、当該抗がん剤の追加効能において小児開発までは特に検討しないこととされていた
  - 変革要因:小児用医薬品に対する評価の充実により、小児開発の事業性の改善を確認することができたため、それを元にグローバル本社への交渉・説得を実施
  - これから:国内試験の計画の具体化が完了次第、PMDA相談を実施予定
- 皮膚科領域製剤の低年齢小児への適応拡大:国際共同試験への日本の参加を積極的に検討する方向に転換し、日本の試験参加を最終決定
  - これまで:国内治験実施の困難さ(登録症例数確保の困難さを含む)等から、小児開発への日本の参加を積極的に検討できない状況にあった
  - 変革要因:小児用医薬品に対する評価の充実により事業性が向上し、開発の意思決定を後押し
  - これから:欧米と同時期の承認取得を目指し、目標日本人症例数の組入れなど国内開発計画を深化させる