

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

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	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）

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容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)

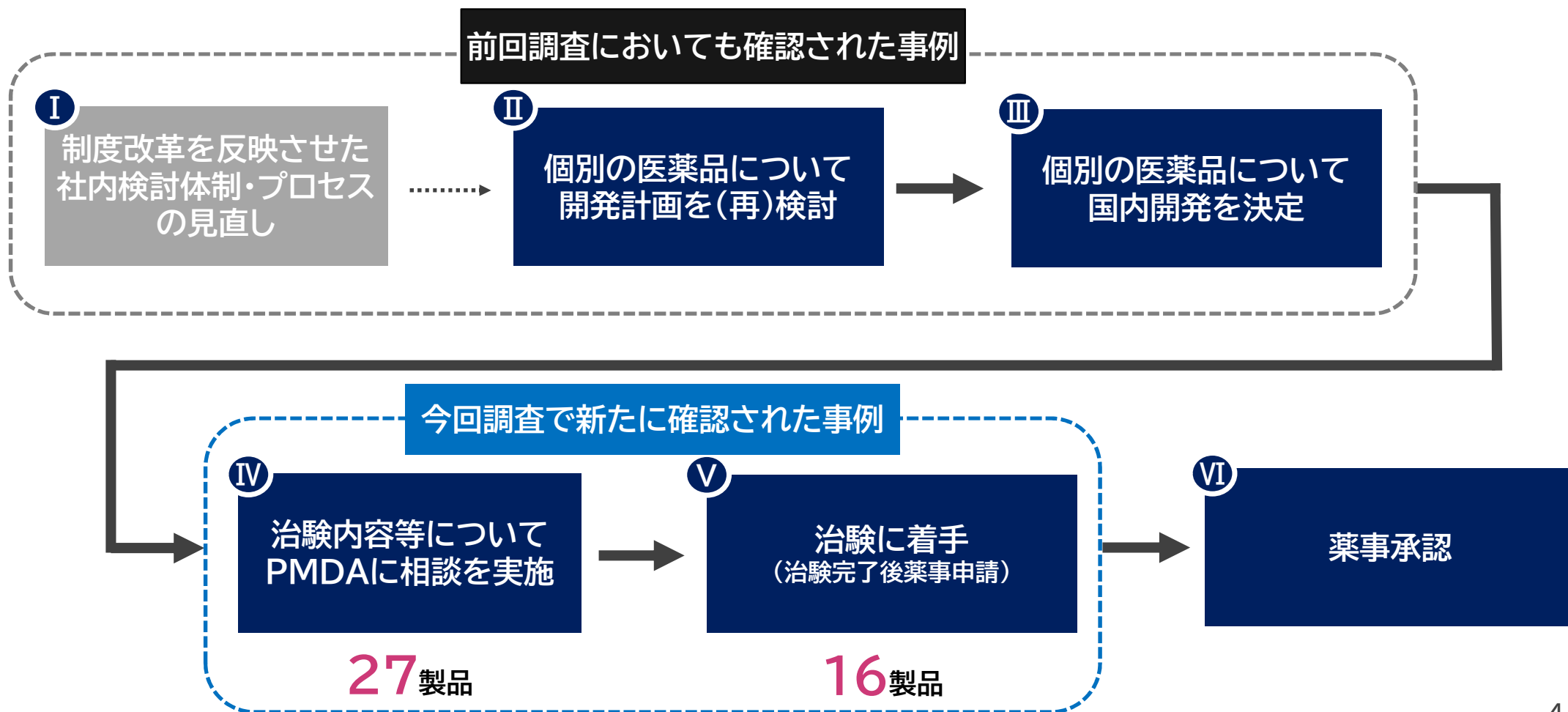
治験実施フェーズ

- 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

開発検討～薬事承認までの流れ(概略イメージ)

今回調査で新たに、④ PMDA相談実施済(27製品)／⑤ 治験の着手(16製品) に進んでいる事例が確認された



(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

- 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
- 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

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

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

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

①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施

- ✓ 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。**

②国内での小児開発の新たな実施

- ✓ 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。**

V

治験に着手 (→appendixに具体的事例を全件詳記)

①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施

- ✓ 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。**

②国内での小児開発の新たな実施

- ✓ 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。**

③国内での新たな成分・適応症の開発

- ✓ 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。**

Appendix

V 治験着手にまで至った事例

①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施 (1)成人開発の前倒し

☆はP6に記載した事例

☆ 迅速導入加算の導入により 国内申請予定時期が前倒しされた事例①

がん

- これまで:優先審査の対象となることが見込まれる品目であっても、国内申請時期の前倒しまでは特に積極的に議論されてこなかった
- 変革要因:迅速導入加算が導入されたことで、国内申請の前倒しに向け、具体的なスケジュールや人員計画について、グローバル本社と協議。グローバル本社のサポートのほか、日本法人におけるリソースが確保できた。
- 現状:当初の国内申請予定時期を前倒しする形で、最初の申請国から大きく遅れることなく、国内承認申請を完了

迅速導入加算の導入により 国内申請予定時期が前倒しされた事例②

希少疾患(2製品)

- これまで:国内申請の時期が欧米よりも後となる傾向にあった
- 変革要因:迅速導入加算が導入されたことで、欧米の一番早い申請よりも概ね半年以内に国内申請をすることが検討されるようになった
- 現状:臨床試験の実施を進めている

収載後の外国平均価格調整ルール変更により 国内申請予定時期が前倒しされた事例

免疫疾患

- これまで:グローバルでの上市順位において、日本は、欧州2か国(独・英)の上市後に行うように設定されることが多かった
- 変革要因:収載後の外国平均価格調整での引上げ調整が可能となったことにより、当初計画よりも国内申請を早めることが可能となった
- 現状:臨床試験実施中

Ⅴ 治験着手にまで至った事例

①国内での開発・申請予定時期の前倒しの実施 (2)小児開発の前倒し

☆はP6に記載した事例

小児用医薬品への薬価評価の拡充が 成人・小児同時開発の意思決定を前倒した事例

中枢神経

- これまで:成人・小児の同時開発を行うことの検討は行っていたが、決定にまでは至っていなかった
- 変革要因:小児加算の要件を満たす製品が新薬創出等加算の品目要件へ追加されたこと、小児加算率の柔軟な評価が、本件開発の決定を後押し
- 現状:成人及び小児の臨床試験のPMDA相談を完了し、成人及び小児の臨床試験を並行して実施中

☆ 小児用医薬品への薬価評価充実の拡充が 小児適応追加の開発期間を短縮させた事例

疾患名非開示

- これまで:治験に参加する小児患者の確保が難しく、試験期間が長期化していた
- 変革要因:小児用医薬品に対する評価の充実を受け、開発期間を短縮することで薬価上のベネフィットが生じるとをグローバル本社に説明し、開発期間短縮の方法についての協議を開始
- 現状: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

V 治験着手にまで至った事例

②国内での小児開発の新たな実施

☆はP6に記載した事例

2024年12月の中医協意見陳述資料p.9(国内開発を決定)で報告した事例

小児用医薬品への薬価評価の拡充が 低年齢小児への適応拡大実施につながった事例

皮膚科領域

- 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
- 現状:治験届を提出済

☆ 小児開発への薬価評価の拡充が 成人試験に小児患者を含める決定につながった事例

がん

- これまで:国内小児開発については検討途中の段階であった
- 変革要因:今回の薬価制度改革における小児開発への評価充実を踏まえて、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ことを検討するようになった
- 現状:開発プランを社内で合意し、すでに治験開始済

小児開発への薬価評価の拡充が 小児への適応拡大の実施決定につながった事例

循環器・腎

- これまで:小児開発を開始することによる再審査期間延長のメリットがある場合は小児での開発を重要視して検討してきた
- 変革要因:小児加算の要件を満たす製品が薬価改定時に新薬創出等加算の対象となったことで、小児開発の事業性の改善が期待されることから、より早期に小児での開発を促進する動きに変化
- 現状:小児開発計画のPMDA確認が完了。小児の臨床試験を開始済。

V 治験着手にまで至った事例

③国内での新たな成分・適応症の開発の実施

☆はP6に記載した事例

2024年12月の中医協意見陳述資料p.8(国内開発を決定)で報告した事例

薬事制度改革・薬価制度改革により
☆ 開発元の企業(買収先)において全く検討されていなかった
製品の国内開発の早期意思決定につながった事例

がんなど(4製品)

- 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
- 現状:国内治験を開始済

薬事制度改革・薬価制度改革により
希少疾病用医薬品の開発検討が促進された事例

希少疾病

- これまで:薬事上の希少疾病用医薬品指定を受けるかどうかは、開発部門で一義的に判断してきた
- 変革要因:①**薬事制度改革において希少疾病用医薬品の指定基準が変更**となり、希少疾病用医薬品の裾野が広がり、取得の可能性が高まったこと、②薬価制度改革において**従来よりも高い希少疾病に係る加算の加算率が見込めるようになったこと**から、希少疾病用医薬品の開発を以前よりも積極的に検討するようになった
- 現状:国内治験を開始済

V 治験着手にまで至った事例

③国内での新たな成分・適応症の開発の実施

2024年12月の中医協意見陳述資料p.8(国内開発を決定)で報告した事例

薬事制度改革・薬価制度改革により 希少疾病用医薬品の日本への導入契約締結が 後押しされた事例

希少疾病(米国で既に承認済)

- **これまで:**日本で開発を実施した場合の期間・費用および事業性が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
- **現状:**国内承認を得るために必要な追加試験等についてPMDA相談を実施。近日中に治験届提出予定。

☆はP6に記載した事例

2024年12月の中医協意見陳述資料p.8(国内開発を決定)で報告した事例

加算評価の充実により 日本への導入契約締結が後押しされた事例

がん(米国で既に承認済)

- **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
- **現状:**国内承認を得るために必要な追加試験等についてPMDA相談を実施。近日中に治験届提出予定。