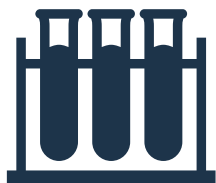


革新的医薬品のイノベーションを通じ より健康で安全な未来を実現する

シモーネ・トムセンPhRMA在日執行委員会委員長
日本イーライリリー株式会社 代表取締役社長

2025年4月8日
米国研究製薬工業協会（PhRMA）

革新的医薬品産業は、健康、安全保障、経済成長の改善に重要な役割を果たす



8,000以上

世界で開発中の医薬品数
(日本は1000+ 以上)

74%

画期的な新薬（ファースト・イン・クラス）になる可能性がある治療薬の割合



4億3,600万回

日本でのCOVID-19 ワクチンの
接種回数

81%

診断から1年以内に復職した
がん患者さんの割合



14万人以上

日本の革新的医薬品分野
における直接的な雇用者数

250兆円

過去10年の世界における
研究開発投資額
(日本においては13 兆円)

問題1: 悪化が予想される日本のドラッグ・ロス

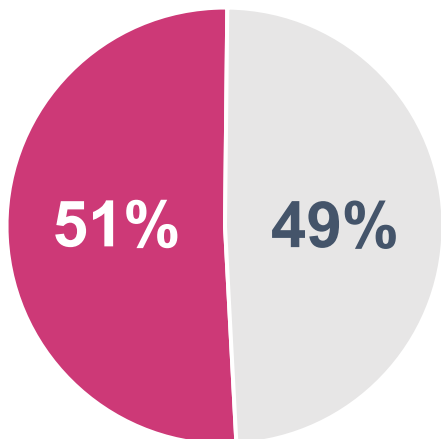
未だ満たされていない医療ニーズの主要領域をターゲットとす革新的医薬品のほとんどが、日本の患者さんへ現状届いておらず、将来も届かない

現状のドラッグ・ロス



2014年から2023年にかけて欧米で発売された新薬のうち、**245 品目**が日本では**未発売**

これらの新薬のうち、**124 品目(51%)** は日本で開発未着手

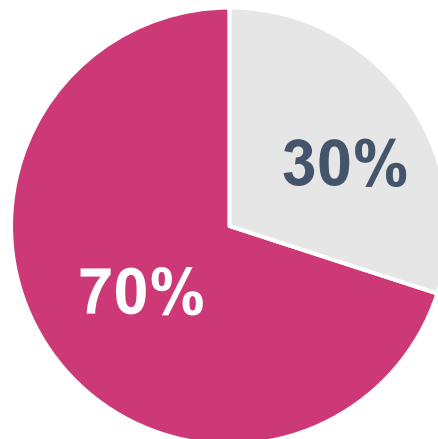


将来のドラッグ・ロス



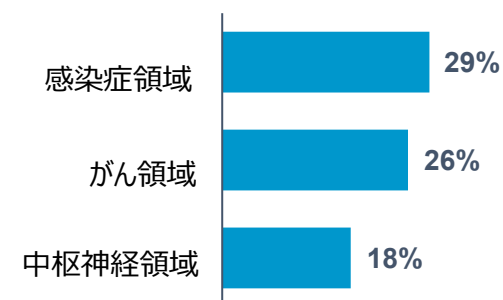
欧米では、**新薬候補601品目**のフェーズ3試験が行われている

これらの新薬候補のうち、**404品目 (70%)** は、日本で開発未着手



日本で開発未着手の新薬候補**404 品目**は、未だ満たされない医療ニーズの主要領域が占める

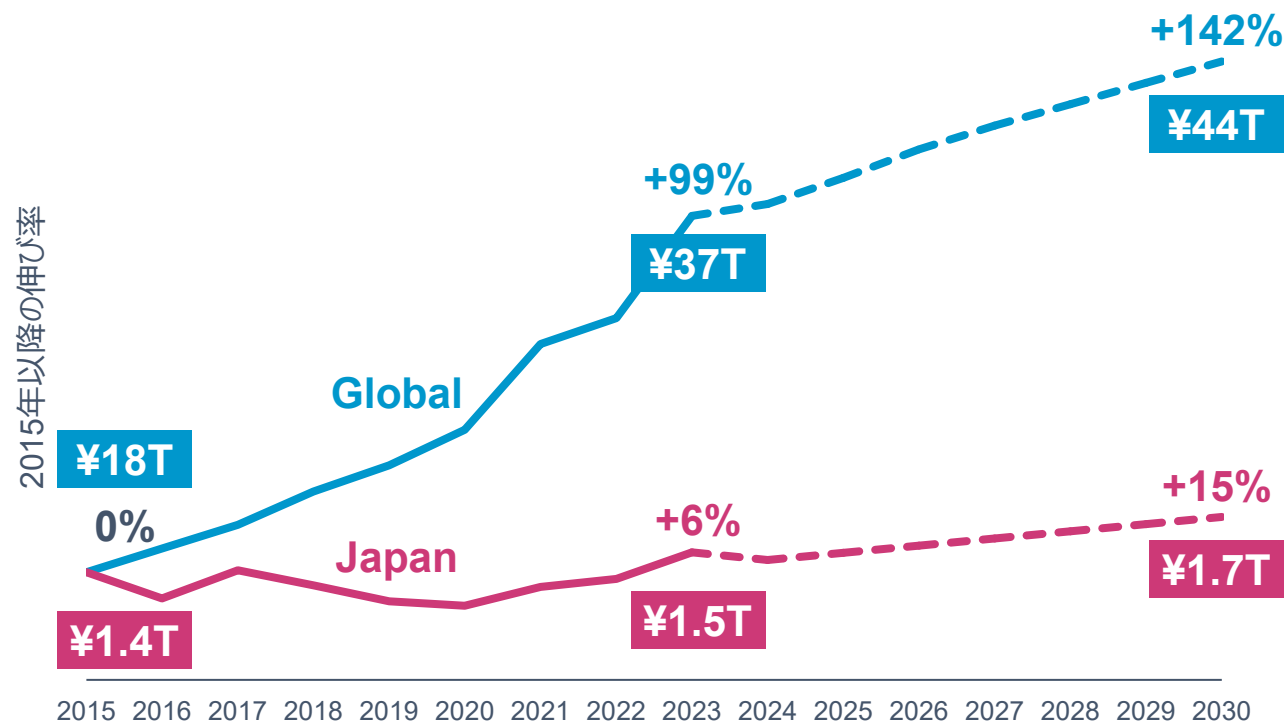
日本で開発未着手の新薬における**上位3疾患領域**



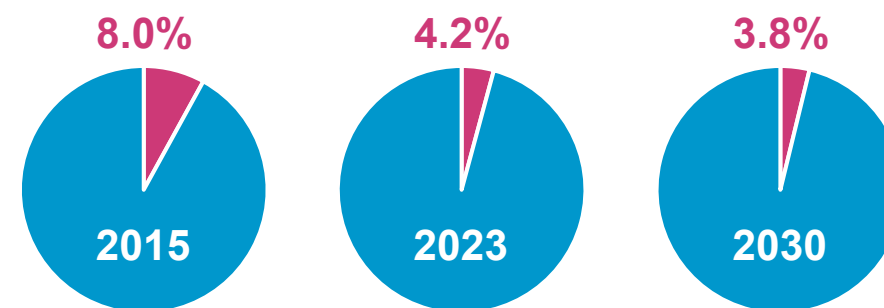
問題2：悪化が予想される日本の研究開発投資ギャップの拡大

日本は現在、世界の革新的医薬品産業の研究開発投資を呼び込む上で、競争上、不利な立場にある

革新的医薬品産業の研究開発投資の伸び率
日本と世界の比較



グローバルな革新的医薬品産業の研究開発投資における日本のシェア



革新的医薬品の薬価を繰り返し引き下げてきた日本

2025年の中間年改定の拡大は、2024年薬価制度改革のポジティブな方向性を覆し、創薬イノベーション・エコシステムの回復に向けた努力を著しく損なうものとなった



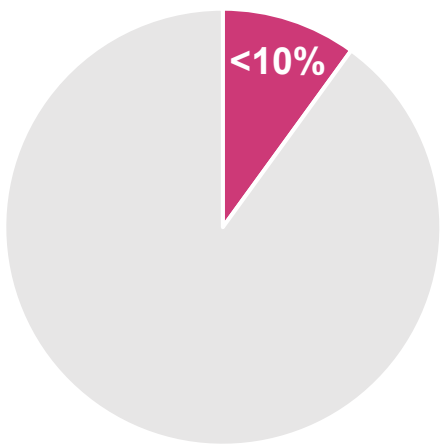
予見性がなく透明性のない決定

日本は医薬品への支出を不均衡に削減してきている

政府は社会保障予算全体を管理するために、薬価引き下げに過度に依存している

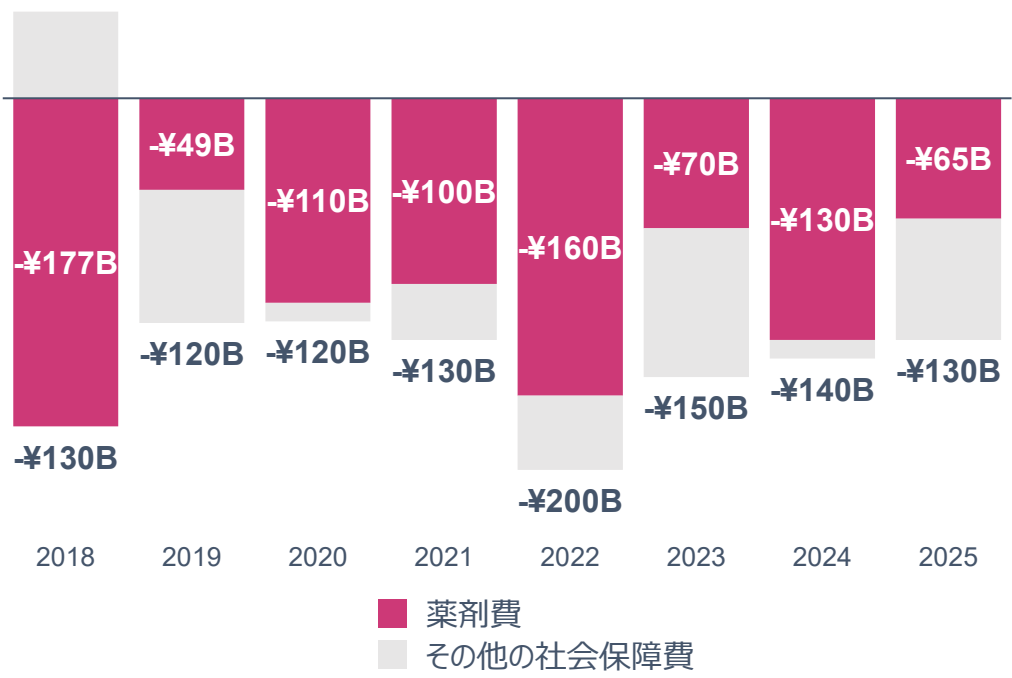
社会保障予算における薬剤費支出のシェア

薬剤費への支出は
全体の10%以下



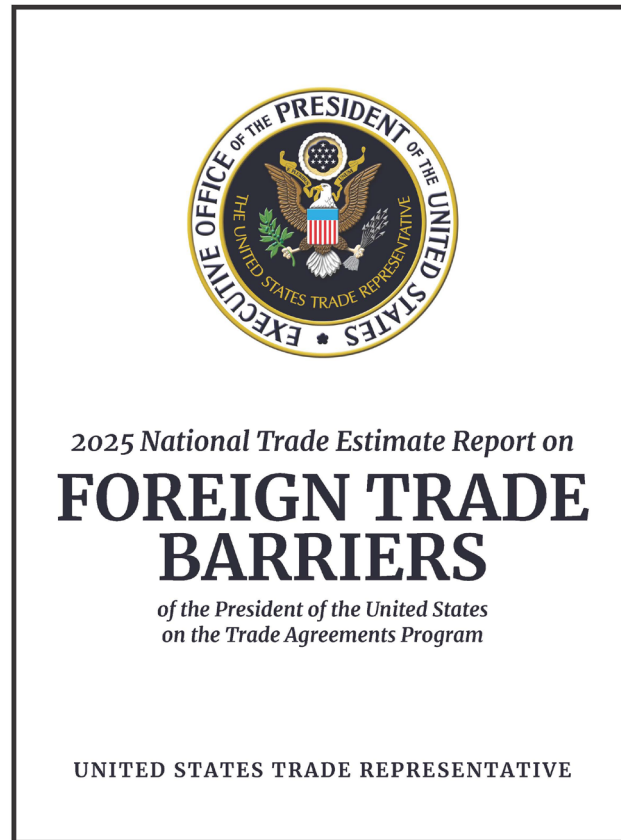
社会保障予算削減の割合
薬剤費とその他の社会保障費との比較

予算削減の70%は
薬価引き下げによる



日米間における革新的医薬品貿易への注目が高まっている

革新的医薬品への度重なる薬価引き下げと透明性の欠如は、米国の輸出を過小評価し、米国の貿易赤字を助長する政策として関心が高まっている



外国貿易障壁に関する国家貿易推計報告書（米国通商代表部）

2024年、米国は日本に対して680億ドルの貿易赤字を抱えている。医薬品は、米国から日本への輸出額の中で2番目に大きい。

「日本は新薬創出等加算(PMP)ルールを変更し、このルールにより恩恵を受けた革新的医薬品の数を大幅に減少させた」

「米国は日本に対し、償還政策に関連するいかなる措置を策定する際にも、米国のステークホルダーを含むすべてのステークホルダーの意見を求め、考慮することを引き続き求める...」

外資系の革新的医薬品企業が 日本の健康と日本の未来に大きく貢献

医薬品パイプライン



外資系企業は日本で
臨床開発する新薬の**73%**を
占める

臨床試験



外資系企業は日本での
臨床試験の**78%**を占める

上市された医薬品



外資系企業は日本で発売
された革新的医薬品の
79%を占める

日本がイノベーションをもたらすための危機打開の優先課題

日本がライフサイエンス分野でのリーダーシップを取り戻し、ドラッグ・ロス再燃を回避するためには、**薬価制度改革と、官民パートナーシップに支えられたサポータティブな政策的枠組みが必須**



イノベーションと患者アクセスを促進する 薬価制度改革



特許期間中の医薬品の薬価の維持

- 中間年改定の廃止
- 費用対効果評価の拡大を止める
- 市場拡大再算定ルール of 改善
(例 再生医療製品)

サポータティブな政策的枠組み



革新的医薬品産業の国家戦略を策定

- 省庁横断的な司令塔機能のもとでKPI設定とモニタリング



現在の財政フレームの見直し

- 革新的医薬品により得られるヘルスケア・システムの支出削減と経済成長を認識

官民パートナーシップにより達成

イノベーション促進のための薬価制度改革が急務である

2026年度の薬価制度改革では、日本におけるドラッグ・ロスと、日本に対する投資の減少を加速化させている政策を止めなければいけない

現状の制度における主要課題



特許期間中の医薬品の半数が毎年の薬価引き下げの対象となっている



提案されている費用対効果評価制度の拡大はドラッグ・ロスを悪化させる



市場拡大再算定ルールは、革新的な治療法に対して時代遅れ

政策改革の提言

特許期間中の薬価の維持



中間年改定の廃止



費用対効果評価制度の拡大防止



市場拡大再算定ルールの改善
(例 再生医療製品)

政府による新たな政策的枠組みの策定が急務である

日本は、革新的医薬品分野を復興させ、最新のイノベーションを日本の患者さんに確実に届けるために、包括的な国家戦略と新たな財政フレームが必要である

革新的医薬品産業の国家戦略

2023年の「骨太の方針」

「新規モダリティへの投資促進のため、政府全体の司令塔機能の下で、総合的な戦略を作成する」

2024年の「創薬力向上会議中間報告」

「早期開発や臨床試験まで推進するような国家戦略が必要」

注力分野



透明性が高く、イノベーションを促進するための薬価制度の確立

研究開発およびバイオ・ベンチャー企業のための環境強化

日本における規制環境の改善

財政フレームの見直し

薬剤費予算に関する決定は、革新的医薬品がもたらす経済的便益を反映して行われるべき



わが国のドラッグ・ラグとドラッグ・ロスの解消を提唱する青木渉さん



- 2022年、青木渉さんは33歳で筋萎縮性側索硬化症（ALS）と診断され、余命2～5年であると言われた
- 2023年4月に米国で迅速承認された新しいALS治療薬は日本で未承認のまま
- ALSは急速に進行するため、青木さんは状況の緊急性から、自費で薬を輸入することにした
- 年間3,000万円の薬剤費を賄うために募金活動を始め、2023年9月に最初の投与を受けた
- ドラッグ・ラグは、ALSのような急速に進行する疾患にとって命に関わる可能性がある
- 患者には時間がない。日本の審査・承認プロセスは時間がかかり過ぎていて、切迫感がないと感じる。

Video Message from Sho Aoki



患者さんを誰一人取り残すこと
のないよう、私たちは共に貢献
することを約束します

日本及び世界で私たちの成功を待ち望
む何百万人もの患者さんのために



