

研究開発型製薬産業は

「健康長寿社会の実現」 に貢献します

研究開発型製薬産業によるビジョンレポート



目次

要旨	3
はじめに	3
第 1 の柱：イノベーションの推進	4
第 2 の柱：持続可能な国民皆保険制度	5
第 3 の柱：エビデンスに基づく政策決定の推進	6
ビジョン実現のための具体策	7
第 1 の柱：イノベーションの推進	8
1. トランスレーショナルリサーチ（橋渡し研究）の強化	8
2. 国際共同治験ガイドラインとの調和	9
3. 迅速な承認制度のより柔軟な運用	10
4. 医薬品安全性監視の円滑化のためにデータ・インフラの活用	11
第 2 の柱：持続可能な国民皆保険制度	12
5. 健康寿命延伸への投資としてのイノベーション	12
6. イノベーションの集まる場としての日本の位置付けの維持	13
7. 特許切れ医薬品分野を見直すことによる支出削減分の、イノベーションへの再投資	14
8. 一次予防・二次予防対策の推進	15
第 3 の柱：エビデンスに基づく政策決定の推進	16
9. 統合的な電子データによる医療記録システムを構築	16
10. 患者中心の価値評価方法の推進	17
11. 意思決定に際し、幅広い関係者の知見を反映	18
注釈	19
組織の概要	20

はじめに

私たちのビジョンについて

研究開発型製薬産業は、患者さんの利益や日本経済の発展のために成長やイノベーションを促進する政策を日本国民の真のパートナーとしてさらに推進してまいります。患者さんとそのご家族の満たされていないニーズに応えるため、革新的な新薬を迅速かつ安全に開発し、提供することを通じて日本経済の発展に貢献します。私たちは、製薬産業に対する患者さんや社会の信頼にこたえるよう、高い倫理基準を追求し、国内外で適用される法令や自主規制を順守してまいります。

国民皆保険制度が持続され、最良の医療が行われるように日本政府と共に努力してまいります。

意思決定に必要な最善のエビデンス（客観的根拠）に支えられた持続可能なイノベーションを促進することで、日本政府が目指す政策の実現に貢献します。同時に、政策実現についての課題や障害を特定し、課題への対応について提案を行っていきます。日本政府と製薬産業の連携により、患者さんにとって良い結果をもたらすだけでなく、日本経済に利益をもたらします。

患者さん中心の考え方は私たちの行動の原点であり、このビジョン全体とビジョンを実現するための基礎となっています。

私たちのビジョンは、患者さん中心の考え方の以下の3つの信念が基本にあります。

1. 私たちは、患者さんに革新的な医薬品を必要に応じ安全かつ速やかに届けることが非常に重要だと考えます。
2. 私たちは、患者さん中心の考え方が健康における成果（アウトカム）を届けるとともに、直接または間接的なコスト削減につながると考えます。
3. 私たちは、患者さんへの医療に関わる意思決定に患者さんの視点を含めることは非常に重要であると考えます。

第1の柱：イノベーション推進

患者さんに革新的な医薬品を安全かつ速やかに届けるべく、先進的な薬事規制の下でのイノベーションを推進します

画期的な創薬を医療の変革へつなげるため、イノベーションを促進します。

- 日本が自らの強みを十分に生かし、創薬および世界への医薬品供給で国際的リーダーとなれるよう、現在の国内トランスレーショナルリサーチ分野に見られる課題の克服を推進します。
- 国際共同治験への日本の参加を促進するため、国際的なガイドラインとの調和を推進します。

先進的な規制環境のもとで、地域ならびに世界のリーダーとして、日本の競争力を向上させます。

- 迅速な承認制度をより柔軟に運用することで、より早期に画期的新薬を国内の患者さんに届けることを推進します。
- ITインフラの活用による最高の安全基準の維持と医薬品安全性監視・市販後調査システムの円滑化を推進します。

第2の柱：持続可能な国民皆保険制度

持続可能な国民皆保険制度の下で患者さんの革新的新薬へのタイムリーかつ適切な負担によるアクセスの確保を推進します

患者さんのタイムリーかつ適切な負担によるイノベーションへのアクセスが確保された国民皆保険制度の下、健康寿命の延伸に貢献する画期的な医薬品・ワクチンを届けます。

- 健康寿命の延伸を促し、国民が生涯を通じて活動的に生活できるよう、画期的新薬を日本の患者さんに届けます。
- 先端技術の集まる場として、また優先的な投資先としての日本の位置付けを維持し、イノベーションの持続的促進およびタイムリーかつ適切な負担での患者さんのアクセス維持を図ります。

特許切れ医薬品分野の効率性向上や一次予防・二次予防への投資により、医療費の最適化を推進します。

- 特許切れ医薬品分野における改革を通じて達成された支出削減分を、イノベーション分野へ再投資することにより、持続的なイノベーション推進環境を推進します。
- 国民皆保険予算全体の抑制に貢献する一次予防・二次予防対策と、それに報いる新政策の策定を推進します。



第3の柱：エビデンスに基づく政策決定の推進

エビデンスに基づく、幅広い関係者の声を取り入れた政策決定を推進します

医療制度及び医療資源のさらなる最適化を促進するデータ・インフラの確立を優先して推進します。

- 将来の医療に関わる意思決定の土台として、患者さんのプライバシーを保護しつつ、主要な関係者がアクセスできる統合的な電子データによる医療記録システムの構築を推進します。

イノベーションの価値について健全で予測可能な評価プロセスを担保する、世界トップレベルの価値評価の枠組みの構築を推進します。

- 患者さんに情報が十分に提供され、患者中心の医療をサポートするため、適切に設計され、エビデンスに基づく医療全体の価値評価システムを利用していくことを推進します。
- 治療の包括的な価値評価を可能にする、患者・産業界・医療提供者・政府といった関係者を早期から全て含んだ対話を行うことを推進します。

ビジョン実現のための具体策

イノベーションの推進

画期的な創薬を医療の変革へつなげるため、イノベーションを促進する。

1. 日本が自らの強みを十分に生かし、創薬および世界への供給で国際的リーダーとなれるよう、現在の国内トランスレーショナルリサーチ分野に見られる課題の克服を推進する。
2. 国際共同治験への日本の参加を促進するため、国際的なガイドラインとの調和を推進する。

先進的な規制環境のもとで、地域ならびに世界のリーダーとして、日本の競争力を向上させる。

3. 迅速な承認制度をより柔軟に運用することで、より早期に画期的新薬を国内の患者に届けることを推進する。
4. IT インフラの活用による最高の安全基準の維持と医薬品安全性監視・市販後調査システムの円滑化を推進する。

持続可能な国民皆保険制度

患者のタイムリーかつ適度な負担によるイノベーションへのアクセスが確保された国民皆保険制度の下、健康寿命の延伸に貢献する画期的な医薬品・ワクチンを届ける。

5. 健康寿命の延伸を促し、国民が生涯を通じて活動的に生活できるよう、画期的新薬を日本の患者に届ける。
6. 先端技術の集まる場として、また優先的な投資先としての日本の位置付けを維持し、イノベーションの持続的促進およびタイムリーかつ適切な負担での患者のアクセス維持を図る。

特許切れ医薬品分野の効率性向上や一次予防・二次予防への投資により、医療費の最適化を推進する。

7. 特許切れ医薬品分野における改革を通じて達成された支出削減分を、イノベーション分野へ再投資することにより、持続的なイノベーション推進環境を推進する。
8. 国民皆保険予算全体の抑制に貢献する一次予防・二次予防対策と、それに報いる新政策の策定を推進する。

エビデンスに基づく政策決定の推進

医療制度及び医療資源のさらなる最適化を促進するデータ・インフラの確立を優先して推進する。

9. 将来の医療に関わる意思決定の土台として、患者のプライバシーを保護しつつ、主要な関係者がアクセスできる統合的な電子データによる医療記録システムの構築を推進する。

イノベーションの価値について健全で予測可能な評価プロセスを担保する、世界トップレベルの価値評価の枠組みの構築を推進する。

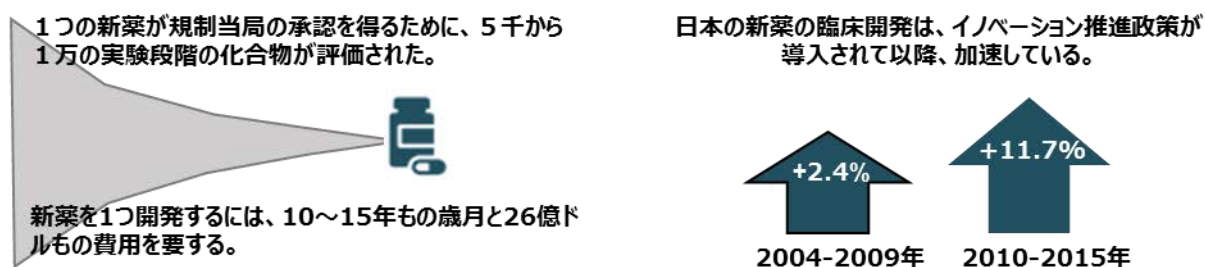
10. 患者に情報が十分に提供され、患者中心の医療をサポートするため、適切に設計され、エビデンスに基づく医療全体の価値評価システムを利用していくことを推進する。
11. 治療の包括的な価値評価を可能にする、患者・産業界・医療提供者・政府といった関係者を早期から全て含んだ対話を行うことを推進する。

日本が自らの強みを十分に生かし、創薬および全世界への医薬品供給で国際的リーダーとなれるよう、現在の国内トランスレーショナルリサーチ分野に見られる課題の克服を推進する

日本は、基礎研究、臨床開発から市販化にいたる、医薬品開発における全てのプロセスを遂行できる科学的な能力、薬事規制面での厳格性、製造技術を備えた数少ない国の 1 つである。日本には、世界的にも大手といえる製薬会社を含む、大規模な製薬産業が存在するが、多くが国内市場を対象としている。さらに、世界でトップレベルの基礎研究を考えると、日本における基礎研究と医薬品の製品化の間をつなぐには課題があると言える。このギャップを埋めるためには、トランスレーショナルリサーチ（橋渡し研究）の強化が必要である。

同時に、イノベーションこそが、世界で最も急速に進んでいる日本の高齢化に対処する最善の策となり、イノベーションを単なる経費ではなく投資として考えれば、医療費全般を削減し、生産性を上げることができる。

創薬から新薬の治療現場への橋渡しはリスクが高い



提案

日本のトランスレーショナルリサーチに対する課題に対応し、日本特有の健康ニーズのみならず世界全体の健康増進に役立つ新薬の研究開発を加速するために、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）、研究機関やバイオベンチャーと、製薬産業との間の官民の協力体制を一層推進していくことを提言する。

私たちが貢献すること

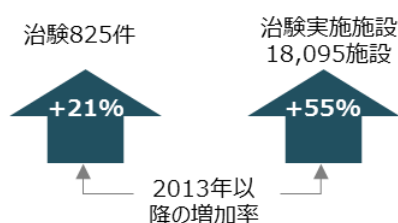
研究開発型の製薬産業は、日本におけるトランスレーショナルリサーチの認知度を高め、若い研究者の能力を伸ばし、共同研究の機会を拡大することにより、貢献をしている。PhRMA はその活動の一環として、マンスフィールド-PhRMA 研究者プログラムによる支援、世界各国の第一線で活躍している研究者を日本へ招いてのシンポジウム開催、ヤング・サイエンティスト・シンポジウムの共催を行っている。

国際共同治験への日本の参加を促進するため、国際的なガイドラインとの調和を推進する

イノベーションを推進する 10 年間超の政府政策によるインセンティブを反映して、日本が国際的なグローバル治験に参加する機会が増えてきている。しかし日本の治験は、他国よりも期間が長く、コストも高くなりがちである。この点が、国際共同治験への日本の参加に対する大きな阻害要因となっている。

特に市場規模を考慮した場合、国際的ガイドラインとの調和をさらに推進すれば、国際共同治験に関して日本の競争力はかなり高まるはずである。またこれにより、日本の患者は現在より早期の時点で新薬を利用できるなど好ましいメリットを生み出すと考えられる。

米国研究製薬工業協会ならびに欧州製薬団体連合会の加盟会社が2015年に日本で治験を行った数は増加している。²



日本では治験費用が高額である³



提案

このビジョンを達成するため、日本における国際共同治験をさらに推進する目的で、国際的ガイドライン（特に ICH-E17⁴）の迅速な実施を提言する。ICH-E17 の実施により、日本がより多くの国際共同治験に参加するための前提条件が整う。このため、ICH や APEC プログラムのような ICH-E17 に関する国際的な能力開発ワークショップにより関わることを提案する。ガイドライン実施の一環として、国際共同治験に関して競合する諸外国に対して日本の競争力をより高めるためにも、現在の高コスト面・時間を要する面への対応を確実に行うことを提案する。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は、ICH-E17 の速やかな実施については、日本が米国及び欧州での実施との整合性を確保する形で、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と協力する準備ができている。日本による ICH-E17 の実施は、今後産業がより多くの国際共同治験に日本を含める契機になると考える。

迅速な承認制度をより柔軟に運用することで、より早期に画期的新薬を国内の患者に届けることを推進する

この 10 年間、PMDA は審査プロセスの改善において大きな進展を遂げた。これにより、審査期間が著しく短縮された。今では PMDA による承認審査は世界でも最速の部類に入る。

日本はファースト・イン・クラスの画期的新薬に関する迅速承認制度を導入した。しかし、現時点で、条件付き早期承認制度および先駆け審査指定制度は、国内の研究開発や臨床開発を促進する点において、十分に活用されていない部分がある。

未だにニーズが満たされていない患者にとって、既存の標準治療と比べて大きなメリットを持ちうる有望な新薬に早急にアクセスすることは重要である。米国と欧州の新たな迅速承認制度で、こうした医薬品の臨床開発および審査が加速されている。従って、迅速承認制度の対象となる医薬品に患者が早期にアクセスできるよう、薬事規制面で十分な柔軟性を確保することが必要と考える。

提案

このビジョンを達成するために、先駆け審査指定制度については、試行運用から早急に正式運用とし、要件を満たす全ての画期的医薬品を指定することが必要であり、条件付き早期承認制度については、その指定対象や指定品目数が欧米の同様な制度と同等のものとすることが必要と考える。これにより、米国及び欧州の Breakthrough Designation、PRIME や Accelerated Approval といった迅速な承認制度と比較しても、日本の早期承認制度の国際的な競争力が確保され、革新的な医薬品を早急に日本の患者に届けることが出来ると考える。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は PMDA と密接に連携し、さらなる日本の制度改善に資するよう、米国及び欧州の薬事規制におけるベストプラクティスや経験を提供していく所存である。

IT インフラの活用による最高の安全基準の維持と医薬品安全性監視・市販後調査システムの円滑化を推進する

医師、患者、政府、産業界、にとって共通の立場は「安全性が最優先」ということである。日本には、患者の安全性を確保するための広範な医薬品安全性監視（ファーマコビジランス）/市販後調査の制度が備わっている。しかし、この制度の多くの部分は日本独自のものであり、その進展も遅々としたものであったため、現在の制度は非常に煩雑で維持コストも高つく。また、より洗練され得る面や重複している面もある。

研究開発型の製薬産業は、利用可能と考えられる全てのデータを活用して安全基準を向上するために、日本が医薬品安全性監視・市販後調査制度を近代化し、現行制度を国際基準に適ったより効果的・効率的な制度に改善する必要があると考えている。

また、このアプローチにより、「先駆け審査指定制度」やその他の迅速承認制度のもと、日本で発売される医薬品について、安全性が懸念されるシグナルを早期に検出する機会が増える可能性がある。

提案

このビジョンを達成するためには、日本政府がデータ・インフラの確立を主導し、それに関係して必要となる関連法規の変更を実施することを提言する。政府が主導するデータベース（MID-NET など）やそれに類する大規模医療情報データベースを ICT（情報通信技術）を活用して統合し、日本で独自に発展した現行制度を、シグナルマネジメントを組み込んだ世界標準方式へと移行させる必要があると考える。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は、医薬品の最高の安全基準を追求する。PhRMA は新たな制度の確立に賛同し、新制度確立のために日本政府と参加する所存である。

健康寿命の延伸を促し、国民が生涯を通じて活動的に生活できるよう、画期的新薬を日本の患者に届ける

日本は世界有数の優れた医療制度を有するが、急速な高齢化社会の進展により、この制度の長期的な持続が脅かされている。高齢者人口は 2040 年までに人口の 35.3% を占めることになると予想され、その一方で高齢者 1 人を支える生産年齢人口は 1980 年の 7.4 人から 2020 年には 2 人にまで減少すると考えられている⁵。一般に高齢者の方がより医療の需要が高く、人口 1 人当たりの直接医療費支出は若年者の約 4 倍に上る⁶。間接費も顕著に高い。この人口構成の変化に伴う困難に対処するため、政府は健康寿命の延伸を政策目標として設定している。この一環として、慢性疾患の悪化予防や家族のための介護離職を防ぐ取り組みが行われている。

高齢化社会では、医薬品は高額な健康関連コストを削減しつつ健康寿命の延伸を実現するための優れた選択肢である。医薬品は、がん、心血管系疾患、糖尿病、関節リウマチ等多くの困難な慢性疾患の治療を常に変えてきている。高齢者の疾患や症状を改善する革新的医薬品やワクチンの継続的な開発と普及は、「健康寿命の延伸」という政府の目標を支援するために欠かせない。

一つ一つのイノベーションの積み重ね(Incremental Innovation)は、患者が社会に貢献し続けることにつながっている。⁷

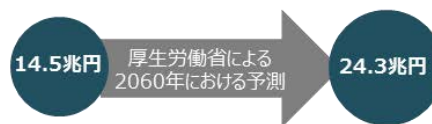
一步一步私たちはがんを克服しようとしている。今日、日本人のがん患者の 5 人中 3 人が 5 年後も生き長らえることができる。



がん患者の 81% は、傷病休業後 1 年以内に復職している。

社会的コストに対処する新たなイノベーションへの投資は必要である。⁸

認知症の社会的コストはすでに膨大で、高齢化に伴いますます増大する。



介護コストの 50% は家族によって負担されており、毎年 10 万人が家族の介護のため離職をしている。

提案

ビジョンの達成のためには、政府及び関係者がイノベーションの価値を、健康で生産性の高い社会を実現するための重要な投資として認識することが必要である。「健康寿命の延伸」という目標達成のために、革新的医薬品やワクチンの価値を認め、正しく使用する社会医療制度の構築を目指して、全ての関係者が協働することを提言する。

私たちが貢献すること

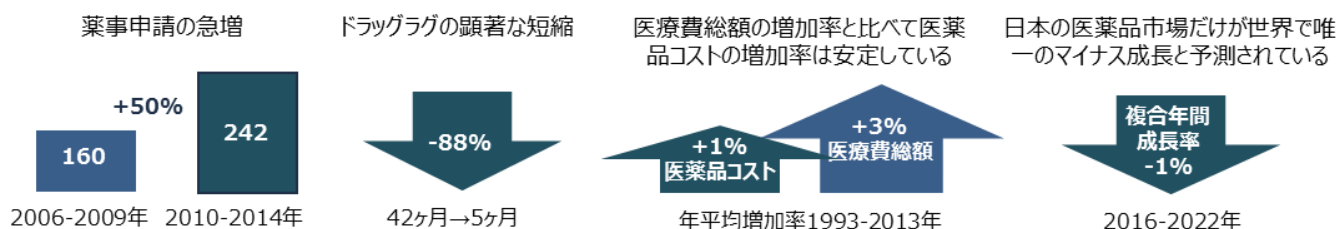
研究開発型の製薬産業は、創薬のみならず、医薬品が適切に評価され、また使用されるために可能な限り最善の根拠を提供することで健康寿命の延伸に貢献している。イノベーションの価値を認める医療制度のもとで、国民の健康寿命の延伸、また生涯を通じて活動的に生活できるよう、革新的医薬品やワクチンの開発・普及に意欲を持って継続する。

先端技術の集まる場として、また優先的な投資先としての日本の位置付けを維持し、イノベーションの持続的促進およびタイムリーかつ適切な負担での患者のアクセス維持を図る

2010 年以前、日本の患者にとって、欧米で発売されている最先端の革新的医薬品へのアクセスは、時には数年間も遅れていた（ドラッグ・ラグ）。この遅延は、日本での治験における課題、規制当局による審査期間が長期にわたること、特許期間中でも定期的に行われる薬価切り下げを含む、イノベーションを適切に評価しない保険償還システムといった要因の組み合わせにより引き起こされていた。2010 年から 2015 年にかけて、政府によるイノベーション推進政策により、ドラッグ・ラグは急速に縮まり、他国で利用可能であった医薬品が使えるようになった。産業界の観点から見ると、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の審査プロセスの改革と、いわゆる「新薬創出加算」の創設という 2 つの改善が重要であった⁹。

2018 年の薬価制度改革において日本政府は、「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」の間のバランスが達成されたと述べている。しかし、イノベーションを推進する政策に悪影響を及ぼすことなく、同じコスト削減目標を達成する手段は他にあったにも関わらず、革新的医薬品を標的とした改革が過剰に進められたというのが製薬業界の見解である。

2010年からのイノベーション推進政策によって、医療費をコントロールしながら、新薬承認の著しい増加とドラッグ・ラグの顕著な短縮を同時に達成した。¹⁰



提案

2018 年に実施された薬価改革については抜本的な見直しが必要である。世界的なリーダーとして日本の位置付けを維持するために、イノベーションを促進する政策を立て直す必要があると考える。この中には、将来の政策変更について事前に産業界と有意義な意見交換を行うこと、国民皆保険制度の持続性を維持しつつイノベーションを適切に評価する公正で予測可能なルールなどが含まれる。

私たちが貢献すること

日本が世界的なリーダーであり続けるために、研究開発型の製薬産業は、世界の中での日本の位置付けを維持したいと考えており、イノベーションを促進する政策の立て直しにより、この位置づけを維持できると考える。国民皆保険制度および産業の双方にとって、予見可能で公平かつ安定した環境が必要である。改革が必要とされることを訴求するため、産業界は厚生労働省と協力する用意はいつでもできている。

特許切れ医薬品分野における改革を通じて達成された支出削減分を、イノベーション分野へ再投資することにより、持続的なイノベーション推進環境を推進する

日本の政策立案者は、国民皆保険の長期持続性を確保するための困難に直面している。研究開発型の製薬産業は、健康改善を通じて社会システム全体の負担を軽減できるイノベーションを提供しつつ、国民皆保険制度が日本国民に及ぼす経済的負担を削減するという産業界が果たすべき役割があることを認識している。

政府が発表した最近のデータで、医薬品への近年の支出が十分にコントロールされていることが示されているにも関わらず、イノベーションの推進政策からコスト抑制対策へとシフトしている。2016年～2018年、社会保障費支出に関する4400億円の削減目標の内、80%以上が薬価切り下げによって賄われた。社会保障費抑制の主たる財源を薬価制度改革のみに求める政府の取組みは、国民皆保険制度全体のコスト増大には対処できない、バランスを欠いた対応である。

他国の医薬品市場と比較して、一般に日本人が特許保護期間中にイノベーションへ支払うコストは相対的に低く、特許切れした医薬品に支払うコストは相対的に高い。もし、日本において、特許切れ医薬品分野を見直すことにより入手可能な削減分の一部がイノベーションの促進に再投資されれば、持続的なイノベーション推進環境を達成することが可能になると考える。

提案

特許切れ医薬品分野に関する見直しを今後も行い、イノベーション推進政策の財源をカバーし、追加的なコスト削減対策の必要性を排除しつつ、より広範な医療予算をサポートすることを提言する。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は特許切れ医薬品分野の製品も有しているが、仮に特許切れ医薬品分野の改革により生まれた財源の一部をイノベーション推進のために使うという統合的な対応を取るのであれば、特許切れ医薬品分野の改革でさらに財源を出すことに積極的に貢献する意向がある。

国民皆保険予算全体の抑制に貢献する一次予防・二次予防対策と、それに報いる新政策の策定を推進する

健康寿命の延伸という日本政府の目標は、高齢化に伴う医療費支出の増加抑制を目指した予防戦略でもある。他の成熟した医療市場と比較して、日本の疾患予防戦略はまだ十分に策定されていない状態であり、これが医療制度において不必要なコストを生み出す原因になっている。

喫煙予防のような予防的医薬品をうまく戦略的に使用すれば、かなりの医療費及び社会的コストの発生が回避できる。一次予防用の医薬品やワクチンは、疾患を防いだり、早期の段階で進行を遅延したりできる。二次予防用の医薬品は、疾患の進行を予防・遅延したり、合併症の発症を防いだりして、結果的に罹患率・死亡率を相当に低減できる。

疾病予防は患者の利益になり、国民医療費を節約する結果をもたらす¹¹



糖尿病の重症化を予防することは、国民医療費の節約につながる¹²



提案

予防を通じて、より健康寿命を達成するという目標達成のために、政府はワクチン推進政策を採用するとともに、予防するイノベーションの一步一步の価値を認めるべきだと考える。特に、医療制度ならびに広範な経済におけるコスト削減と比較して、必要とするコストが少ない分野でのイノベーションにインセンティブを認める政策が重要である。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は一次予防・二次予防に貢献するイノベーションを日本にもたらしたいと考えている。さらに、例えば患者の治療への積極的に取り組めるようにするため、薬を投与するためのデバイスの改善や ICT（情報通信技術）の活用を通じて、産業界は医薬品が患者に可能な限りの好ましい影響を与え、患者の満たされていない医療ニーズに応えたいと考えている。

将来の医療に関わる意思決定の土台として、患者のプライバシーを保護しつつ、主要な関係者がアクセスできる統合的な電子データによる医療記録システムの構築を推進する

患者にとって最善の治療を選定するとともに、医療サービスの最適かつ効率的な活用を検討し、医療資源を最も効率的に利用するためには、強力なデータシステムとインフラを整備する必要がある。現在の日本における電子データによる医療記録の利用は限定的であり、医療データの収集・連携・解析はまだ改良の余地があるといえる¹³。

多様で良質なデータの利用は、エビデンスに基づく医療の基盤となるのみならず、実際に全ての医療政策の基盤である。患者中心の医療制度において、医師と患者の行動をより良く理解し、治療の道筋全体を最適化するには、患者の治療を包括的に統合したデータを保有することが重要である。医療における良質なデータは、様々な関係者によって活用され、患者の治療全体を向上させる。データが利用できることにより向上が予想される主要な分野として、以下が挙げられる：

- 満たされていない医療ニーズの特定および目標設定：日本において治療が不十分な患者層の特定から治療設計の最適化に及ぶ。
- 医療に関する選択肢の調査研究：患者報告アウトカムに基づいた様々な治療や技術に関する価値、安全上の課題の発見と対応の迅速化を含む。
- サービス提供の管理：サプライチェーンのオペレーションの最適化、サービス提供の調整と活用度の向上、患者の積極的な治療参加（アドヒアランス）の改善、無駄の削減¹⁴と購買の最適化を含む。

提案

このビジョンを達成するため、政府は国のデータベース（例：MID-NET）とそれに類する大規模な医療情報データベースをICT（情報通信技術）を活用して統合すべきと考える。研究開発型の製薬産業は、全国民について電子データによる医療記録を整備し、全ての病院及び医師がデジタル化された医療データを利用できる状況を実現するよう提言する。統合されたデータベースは、個々の患者が最適な医療を受けられるよう、患者の治療の道筋全体をカバーしていること、一定の要件を満たした産業界・政府・大学の関係者に対して、個人の特定不能なデータへのアクセスを可能にすることを提言する。この際、患者のプライバシー保護を確保しつつ、知的財産権など商業的に機微にわたる情報の保護についての措置をとるとともに、国際的な基準に沿った責任あるデータベースの利用が図られなければならない。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業はPMDAのMIHARIプロジェクトとMID-NETを支援し、ITインフラに関する政府の協議に積極的に参画しており、今後のシステム構築に関して政府と一致した見解を持っている。製薬産業は、個人情報の強力な保護を支援し、プライバシーに関する最高の国際基準への準拠を確保するために、政府に協力する意向である。

患者に情報が十分に提供され、患者中心の医療をサポートするため、適切に設計され、エビデンスに基づく医療全体の価値評価システムを利用していくことを推進する

産業界は、良質なエビデンス（客観的根拠）が活用され、医療において十分な情報に基づき意思決定が行われることを支持し、日本政府が医療技術評価（HTA）の導入について関心を有していることを認識している。

医療技術評価（HTA）は複雑な制度で、現在のところ世界各国が医療技術評価（HTA）をどのように取り入れているかは非常にばらつきがある。大部分の医療技術評価（HTA）システムは、価値の認識に欠点があり、コスト抑制に過度に取り組むもので、客観性を欠いている。そのような問題点は、患者の必要な医薬品へのアクセスを遅らせ、医療技術評価（HTA）と全体的な医療制度の目的との間でアンバランスが生じている。多くの国は欠陥に対応しながら医療技術評価制度を発展させてきており、日本は他国から学ぶことで、課題の特定に時間がかかりうる予期せぬ結果を避けることができるであろう。

海外諸国の先例が示すのは、質の高い医療技術評価（HTA）の枠組みには、(1) 明確なデータ要件、方法論、決定に関する論理的根拠という正当なプロセスの促進、(2) 患者ならびに医療者の知見の反映、(3) あらゆるエビデンス（客観的根拠）ならびに幅広い成果・結果の調査を通したシステム全体像、(4) 科学及び医学の段階的に継続しながら発展する特質を高く評価すること、が含まれている。

提案

日本において、評価が患者中心であり、必要とされる治療への動機づけが残るような、医療技術評価制度を発展させる取組みを継続することを提言する。質が高くてエビデンスに基づく、予見可能な成果・結果を達成するためには、価値を評価する際、幅広いエビデンスに基づいたゆるがない方法を用い、その結果、信頼性の高い意義がある情報を届けることを提案する。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は、患者が自らのニーズに合った、最も適切な治療を確実に受けられるように設計された、エビデンスに基づく意思決定を支持する。産業には医療技術評価制度への様々な取組みに関わる経験があり、諸外国の医療技術評価制度で起きた予期せぬ問題の多くを回避しつつ現行の薬価算定制度に沿った適切な制度設計を進めるという点で政府に協力する意向である。

治療の包括的な価値評価を可能にする、患者・産業界・医療提供者・政府といった関係者を早期から全て含んだ対話を行うことを推進する

革新的な技術によって提供される価値は、臨床的・社会的・経済的要素への相対的重み付けについての観点の相違により、その理解は関係者によって様々である。したがって、特に臨床の専門家、患者、製薬企業といった幅広い関係者からの知見を取り入れることが必要不可欠である。

治療の価値についての評価は患者中心の視点に基づいて行われるべきであり、患者からの相当量の知見の提供が必要である。患者中心の医療を実現するために、患者にとって価値のある医療技術が特定・推進され、患者が意思決定において役割を確実に担うことも含め、評価プロセスに患者が参画するべきである。多くの国はすでに患者の参画を行ってきている。

さらに、研究開発型製薬産業は、治療薬の付加価値についての当局の期待や、費用の支出に見合うと当局が判断する価値がどのようなものかについて把握する必要がある。このため、販売承認に先立ち、産業界と当局の間で対話が必要となる。この対話においては特に患者と医療提供者にとっての価値を特定することを中心に行われるべきである。

提案

このビジョンを達成するために、政府が幅広い関係者による知見を医療技術評価の全ての段階に適正に組み入れることを提言する。医療に関する意思決定プロセスに重要かつ客観的な知見の提供を行う方法について、患者や関係団体への啓発をどう支援するかを検討するべきである。様々な関係者からの知見の提供を推進し、患者、製薬産業その他の関係者が対等な立場で正規の政策協議をする場を提供することを提案する。さらに、諸外国の成功例にならい、早期相談手続の確立も提言する。

私たちが貢献すること

研究開発型の製薬産業は患者中心の知見の提供を支援しており、この支援を臨床評価（患者報告アウトカムなど）を通じて、あるいは、患者団体が臨床とは異なる経験を偏りのない方法での提供できるよう支援するプログラムを通じて行っている。

注釈

1. PhRMA「バイオ医薬品研究開発プロセス」<https://www.phrma.org/graphic/the-biopharmaceutical-research-and-development-process>（2018 年 4 月アクセス）；PhRMA「処方せん医薬品：日本におけるコストの実態」（2017 年）
2. PhRMA・EFPIA「あなたの身近にある研究開発活動」新薬の研究開発活動を通じた PhRMA / EFPIA 加盟企業による日本社会および経済への貢献（2016 年）
3. 日本の患者一人あたりの治験費用は世界各国より 2～6 倍もの費用がかかる。治験開始、患者・研究者の治験参加者確保に問題を抱えている。
4. ICH-E17 (2017) 国際共同治験の計画及びデザインに関する一般原則
http://www.ich.org/fileadmin/Public_Web_Site/ICH_Products/Guidelines/Efficacy/E17/E17EWG_Step4_2017_1116.pdf.
5. 厚生労働省「平成 29 年版 厚生労働白書」
6. 厚生労働省「平成 22 年度 国民医療費の概況」<http://www.mhlw.go.jp/toukei/saikin/hw/k-iryohi/10/>.
7. 遠藤他「がんによる病気休暇後の職場復帰：日本人がん患者の 365 日コホート研究」がん患者生存ジャーナル（2015 年）注：職場への復帰は、正社員ならびにパート社員を含む。
8. 「わが国における認知症の経済的影響に関する研究」（2015）厚生労働科学研究費補助金（認知症対策総合研究事業）
9. 新薬創出加算の正式名称は「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」である。
10. 独立行政法人医薬品医療機器総合機構「製品承認 2009-2014 年」；Center for Innovation in Regulatory Science, 2015, 「New drug approvals in ICH countries, 2005-2014: Focus on facilitated regulatory pathways and orphan designations」R&D Briefing 59；鈴木 康裕 厚生労働省医務技監「バイオアジア会議（東京）」（2017 年 3 月 14 日）；IMS「マーケット予測 2016-2020 アジア・オーストラリア・日本」
11. 新種の PHiD-CV ワクチンは標準的なワクチンに比べ、2013 年の出生児の急性中耳炎（耳感染）を 92,467 件予防したと見込まれ、医療費 19 億円削減し、間接費用も 39 億円削減となった（患者への医療費損失を防いだ）。白神他「日本の小児に関する沈降 10 価肺炎球菌結合型ワクチン（無莢膜型インフルエンザ菌プロテイン D, PCV10）ならびに沈降 13 価肺炎球菌結合型ワクチン（PCV13）の費用効果分析」感染症と治療（2015 年）
12. 経済産業省「「健康経営銘柄 2018」及び「健康経営優良法人（大規模法人）2018」に向けて」
http://www.meti.go.jp/policy/mono_info_service/healthcare/downloadfiles/2017healthcare_presentation_v2.pdf.（2018 年 4 月アクセス）
13. OECD「医療の質レビュー：日本」（2015 年）
14. 総合研究開発機構「本腰の医療改革」（2015 年）ここで言う「浪費」は、医療費の浪費を意味し、患者の積極的な治療参加を阻害し、過剰投与、処方間違いという結果をもたらす。

組織の概要

米国研究製薬工業協会

PhRMA は、米国で事業を行なっている主要な研究開発志向型製薬企業とバイオテクノロジー企業を代表する団体です。加盟企業は新薬の発見・開発を通じて、患者さんがより長く、より健全で活動的に暮らせるよう、先頭に立って新しい治療法を探求しています。加盟企業の新薬研究開発に対する投資額は、2000 年からの累計では 6000 億ドル以上に達し、2016 年単独でも推定で 655 億ドルになりました。

日本における PhRMA

PhRMA の日本オフィスは 1987 年 1 月の開設以来、在日加盟企業を代表し様々な活動を積極的に展開しています。行政、医療政策担当者、医師をはじめとする医療従事者、報道関係者、そして患者団体等、関係するすべての団体と直接対話を重視した活動を推進しています。PhRMA は日本製薬団体連合会、日本製薬工業協会、欧州製薬団体連合会と協力して活動を展開しています。

出版日：2018 年 5 月 16 日

