

日本の患者さんに最適な医療を提供するために  
- PhRMA2019年活動方針発表 -

パトリック・ジョンソン PhRMA在日執行委員会委員長

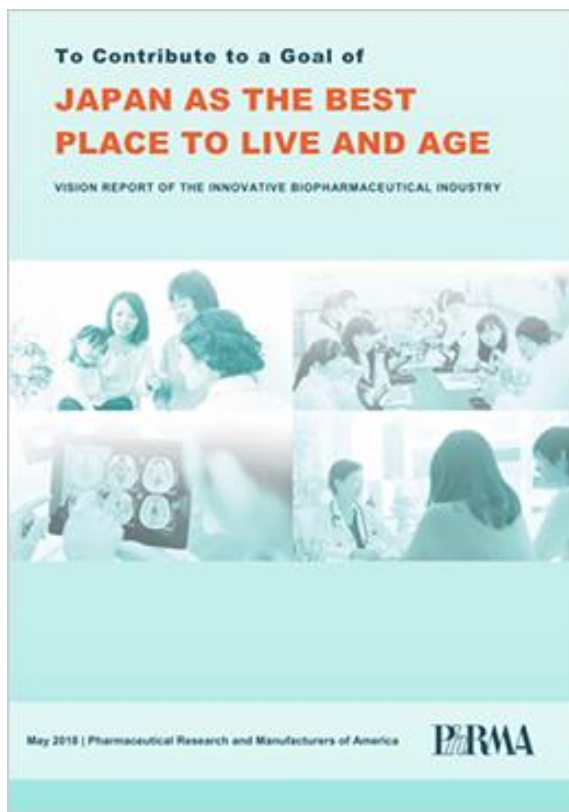
2019年2月7日

# アジェンダ

- **2018年及び2019年における医薬品業界の活動**
- 2019年におけるPhRMAの優先目標

# より幅広いステークホルダーからの産業理解促進に注力

## PhRMAビジョンの策定



## Researchers' Quest

日本の患者さんに希望をもたらす有望な  
治療法のパイプラインについて語り合うため  
世界中の研究者を日本に集める



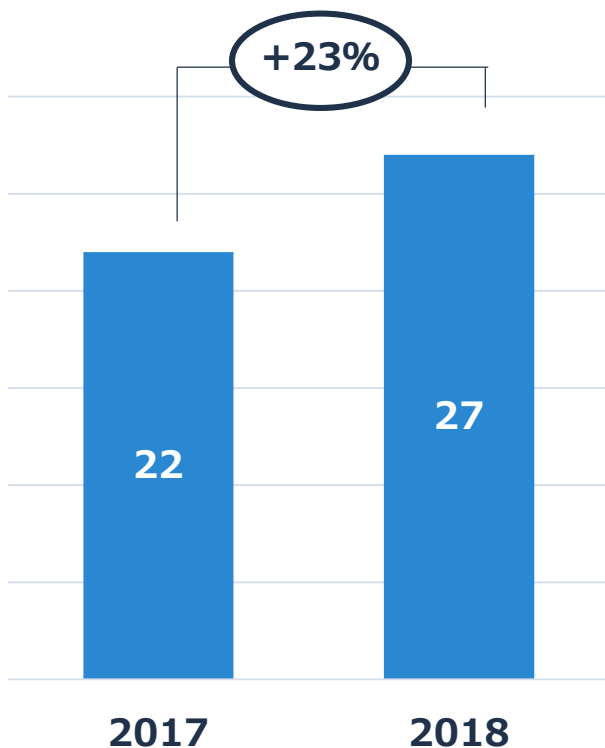
## 患者アドボカシーアカデミー

医療に関する意思決定において  
患者さんの視点が考慮されることを  
確実にするため、必要な知識を得ていただく  
勉強会を開催し、  
次世代の患者団体リーダーを育成する



# イノベーションの成果を迅速に日本の患者さんに提供し続ける

## PhRMA加盟企業11社の 新医薬品承認数



## 条件付き早期承認制度の運用開始



承認年月	品目	適応症	企業
2018/9	ローブレナ	ALKチロシンキナーゼ阻害剤に抵抗性または不耐容のALK融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	ファイザー
2018/12	キトルーダ	がん化学療法後に増悪した進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性（MSI-High）を有する固形がん（標準的な治療が困難な場合に限る）	MSD

## RWDを活用した製造販売後調査



MID-NET（PMDAの医療情報データベース）初の民間利用はファイザー「イブランス」、製造販売後データベース調査で活用

# 薬価引下げに大きく依存した社会保障費の伸び抑制

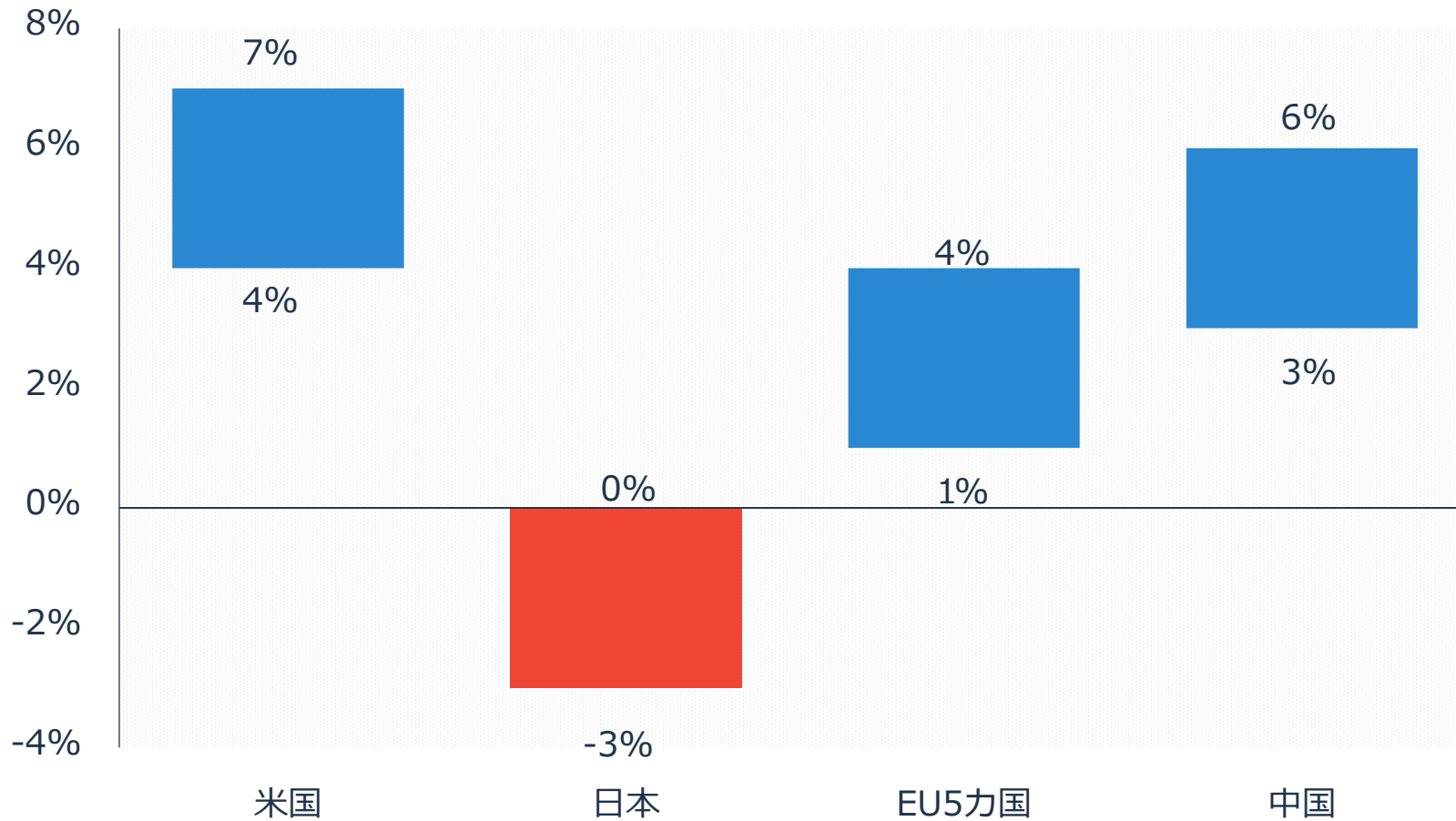
主要国市場で唯一のマイナス成長が見込まれる中、社会保障費抑制に必要な財源の大部分を薬価引下げに求めることはもはや限界

## 集中改革期間における社会保障関係費

年度予算	必要な抑制額	薬価改定による抑制額
2016年	-1700 億円	-1750 億円
2017年	-1400 億円	-200 億円
2018年	-1300 億円	-1760 億円

抑制費全体の80%超が薬価引下げによるもの

# 日本の成長見込みは主要市場の中で最低



2019~2023年のCAGR	
米国	4-7%
日本	(-3)-0%
EU5カ国	1-4%
ドイツ	3-6%
フランス	(-1)-2%
イタリア	2-5%
イギリス	2-5%
スペイン	1-4%
中国	3-6%

# 日本がイノベーションを促進する政策から逸脱する一方で 中国はより予測可能でイノベーションに報いるビジネス環境の整備に努めている

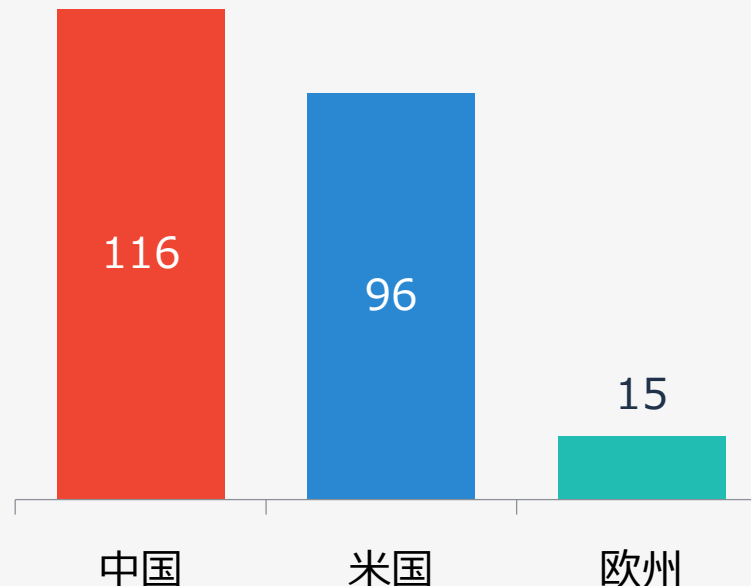
## 医薬品に関する知的財産権の 基準を変更

### 知的財産権に関する重大な改善を提案

- 中国政府は、特許期間回復、パテントリンケージ、及びバイオ医薬品については最長12年、低分子医薬品については6年までのデータ保護規制を計画していると発表
- 一方、日本にはパテントリンケージのための堅牢な制度が存在しない：バイオ医薬品については8年のデータ保護規制があるのみ

## 細胞療法においても 世界を主導しつつある

### 中国におけるCAR-Tの治験数は 米国や欧州を超過



## 革新的治療薬へのアクセス拡大

### 数々の規制改革によって製品の 市場導入が進行

- 8年遅れで2017年に更新された中国の医薬品償還リスト（NRDL）に、高価値の革新的製品が36追加
- 2018年のNRDLにおいてがんの治療薬17製品が追加
- NRDLは2019年にも更新予定

# アジェンダ

- 2018年及び2019年における医薬品業界の活動
- **2019年におけるPhRMAの優先目標**



# 新薬創出・適応外薬解消等促進加算（PMP）

イノベーションを適正に評価し促進する観点から、次期改定にて内容の見直しが不可欠

## 新薬創出加算の課題

市場に出る早さでイノベーションを評価するのは不適切

品目要件は革新性を適正に評価していない

企業要件は中小企業よりも大企業に有利

# 費用対効果評価（HTA）の本格導入に関する現行案は、イノベーションを抑制し、患者さんを危険に晒す

現行案には重大な問題があり、修正されない場合、革新的なバイオ医薬品への患者さんのアクセスが制限されることになる

## 主要なステークホルダーの意見を取り入れずに策定

新たな制度は、世界的なHTA専門家や患者さんなど、関連する主要ステークホルダーの有意義な意見を考慮することなく議論されたもので、公正さ、透明性、日本市場の予見可能性に関して重大な問題を抱えている。

## 提案された評価モデルの重大な欠点

質調整生存年（QALY）に基づいた狭義のコスト計算により、患者さん、医療サービス提供者、そして医療制度全体に寄与する革新的医薬品の価値が低く評価されている。

## 世界のベストプラクティスを反映していない

日本の現行案は諸外国の経験に学んでおらず、世界の最新トレンドから逸脱している。したがって、今後とも厳密かつ継続的な見直しが必要。

# 情報に基づいた意思決定を行うには、 しっかりとしたエビデンスを利用すべきだとPhRMAは考える

厚労省の現行案を更に改善し、“ベストインクラス”のHTAを実現すべき



**健全なプロセスを提供**  
オープンかつ透明性が高いプロセスにより、外部の意見を取り込み、患者さん及び医師の果たす役割を拡大する。



**患者さん中心のケアをサポート**  
患者さんの好みや不均一性に配慮し、結果を適切に伝え、誤用を防ぐ。



**信頼性が高く適切な情報を伝達**  
あらゆるエビデンスと長期間及び広範囲に及ぶ結果を重視した厳密で透明性の高い手法を採用する。



**継続的な科学的及び医学的進歩を重視**  
パーソナライズド・メディスン、段階的進歩、イノベーションの伝承を重視する。



**システム全般の観点から価値判断を行う**  
試験、治療、ケア管理のアプローチ、医療サービスのあらゆる側面を検証する。

# 日本の患者さんに最適な医療を提供するために - PhRMA2019年活動方針 -

## 費用対効果 評価

- 経験と事例を蓄積できるよう、ICER以外の要素について、企業によるエビデンスの提出が認められること
- 業界提案を含めた総合的評価の枠組みの更なる検討に向けて、関係者との連携、協議が継続されること
- ICER以外の要素を考慮した総合的評価の枠組みを、できるだけ早期に実現し、様々な関係者ととも、その運用に関する指針を策定すること

## 次期薬価制度 改革

- 新薬創出等加算の見直し：品目要件の拡充、企業要件の撤廃
- 効能追加等の革新性・有用性を評価する仕組みの導入
- 再算定のあり方の見直し
- 特許切れ医薬品市場の改革など持続可能性を確保するための方策

## 規制改革

- 薬機法改正における先駆け審査指定制度、条件付き早期承認制度の法制化と、指定対象、指定品目数などについて欧米の早期承認制度に対する競争力の確保
- RWD、ICT、AIなどの活用により、開発及び市販後安全性監視活動が効率的に行えるよう最適化を図る

# 日本の患者さんに最適な医療を提供するために - PhRMA長期活動方針 -

「健康長寿社会の実現」という日本の目標に貢献するために

## イノベーションの柱

### 研究と規制

R&D / トランスレーショナル・リサーチ	ガイドラインの調和
迅速な承認	市販後調査

## 持続可能性の柱

### 投資と節約

健康寿命	イノベーション
特許切れ医薬品分野の見直し	予防対策

## エビデンスの柱

### 品質情報

データ・インフラ
価値評価
ステークホルダーの関与

患者中心の考え方は、私たちの行動の原点であり、  
ビジョン全体の基礎となっている