

患者さんにとって最適な医療を継続していくために  
ジョバンニ・カフォリオ会長

2019年10月3日

**PhARMA**  
RESEARCH • PROGRESS • HOPE

# G20：重要な医療の課題で日本がグローバルリーダーシップを示す

G20大阪サミットにおけるグローバルな医療問題の課題：



- 国民皆保険への移行
- プライマリヘルスケアおよび医薬品へのアクセス強化
- 予防の促進により、健康で活動的な高齢化を促進

# 患者さんのために業界が取り組んでいること： 治療を促進するため、革新的な科学的アプローチを追求

全世界で約8,000の医薬品を開発中<sup>1</sup>



## 筋萎縮性側索硬化症 (ALS)

幹細胞治療の目的は、損傷した運動ニューロンの置き換え・保護により、疾患の進行を遅らせることです。



## 遺伝性疾患

遺伝子治療は、原因となる遺伝子変異を直接改変することにより、多くの疾患の進行を食い止めることが可能です。

RNA干渉 (RNAi) 技術は、遺伝子の発現に干渉することで発病を防ぎます。



## がん

キメラ抗原受容体 (CAR) T細胞免疫療法では、免疫増強T細胞を個々の患者に合わせて改変し、標的である血液癌細胞を破壊します。

CRISPR/Cas9技術は、T細胞内の遺伝子配列を編集し、再プログラミングすることで腫瘍細胞を特定し、破壊します。

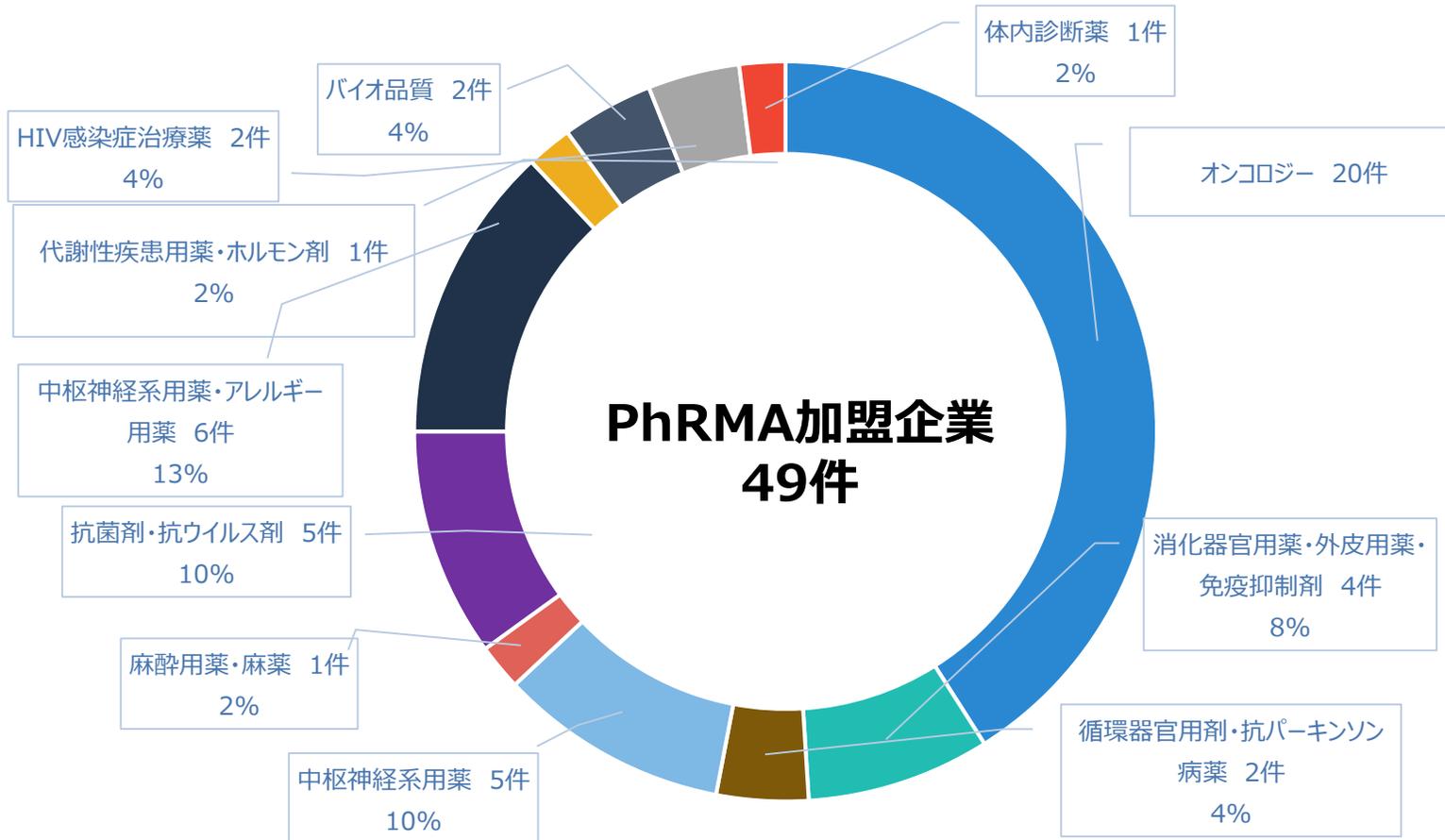
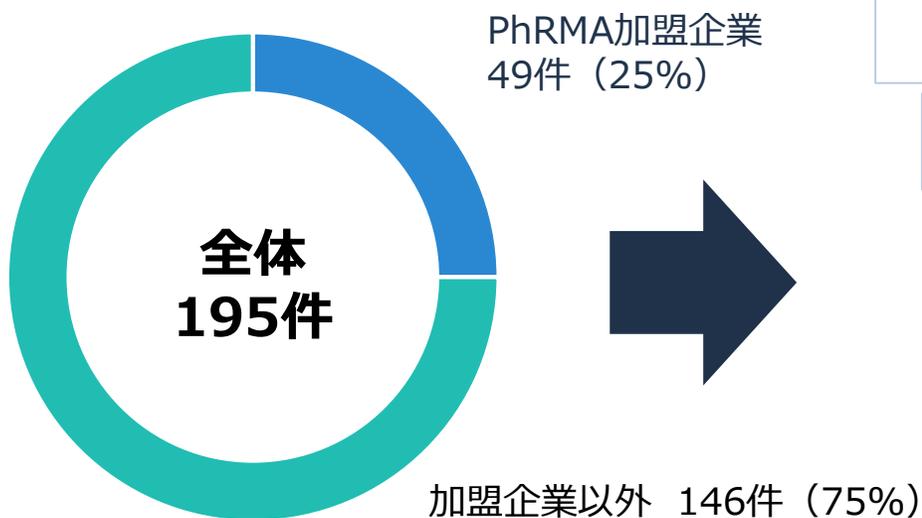


## 血友病

アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクター介入遺伝子治療により、患者の血液に凝血が生じ、出血予防のための慢性的治療は必須ではなくなります。

# 患者さんのために業界が取り組んでいること： 新しい治療法と医薬品を市場へ

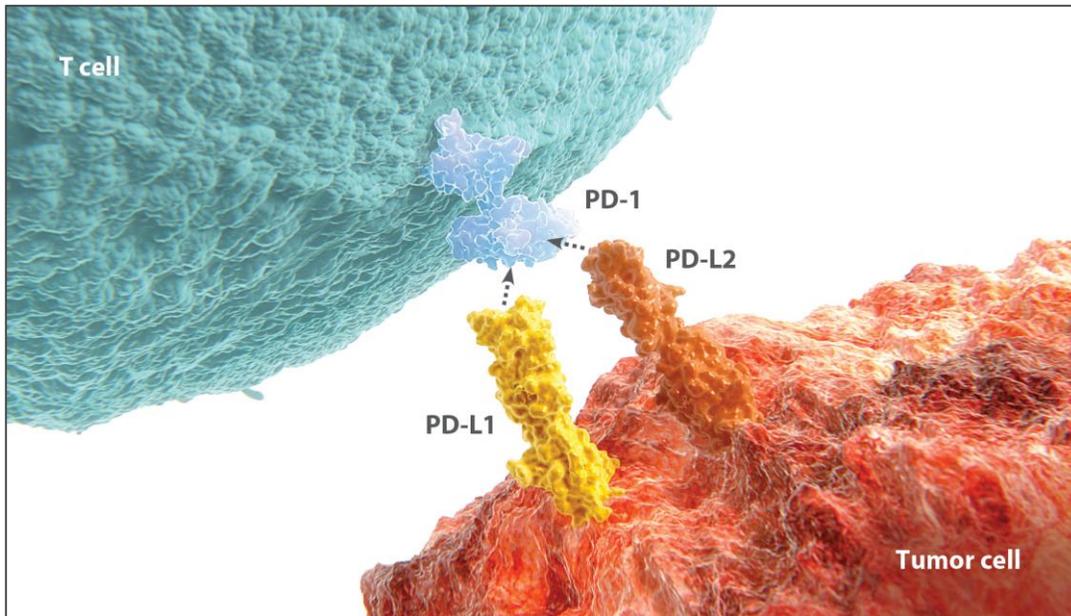
- PhRMA加盟企業は、日本の患者さんに引き続き革新的な医薬品をお届けします。
- 2017年および2018年に承認された製品の25%は、PhRMA日本の加盟企業12社によって開発され、そのうち41%がオンコロジー領域でした。



# 患者さんのために業界が取り組んでいること： がん免疫療法における大きな進歩

先駆的ながん免疫療法の研究が、画期的ながん治療法をもたらし、  
複数の腫瘍での生存に対する考え方を根本的に変えました。

がんを攻撃する免疫系を活性化する方法が発見され、ノーベル賞を受賞しました。



# 患者さんの視点を取り入れる： 日本人患者さんの考え方

最近の調査によると、日本の患者さんはバイオ医薬品業界および政府に対する期待感が高く、新薬を早く市場に導入する体制の整備を願っています。

患者さんたちは、新しい薬やワクチンを求めており、政策決定に参加したいと思っています。

60%

が製薬会社に「新しい薬とワクチンの研究開発を強化」  
してほしいと期待

57%

が医薬品に関する政策決定プロセスへの参加を希望

# 患者さんのための政府の努力： 患者の医薬品やワクチンへのアクセスの改善

政策環境の改善に向けた最近の動きは、  
革新的な医薬品への患者アクセスを加速し、研究開発の動機付けとなり得る



医薬品医療機器等法改正

難病法改正



予防接種法改正

# 患者さんのための政府の努力とその現状： 薬価制度の抜本的改革

新薬価算定ルール其主要部分が改革の方向性に対する懸念を引き起こしています。

## 現状

## PhRMAの提言

### 新薬創出加算

2018年4月に導入された新ルールは、科学的根拠に基づくものではなく、世界でも類例がありません。

2020年の薬価改定時に新ルールを改善する。

### 医療技術評価 (HTA)

医療技術評価 (HTA) は使われ方によっては新薬への患者さんのアクセスを妨げる可能性があります。

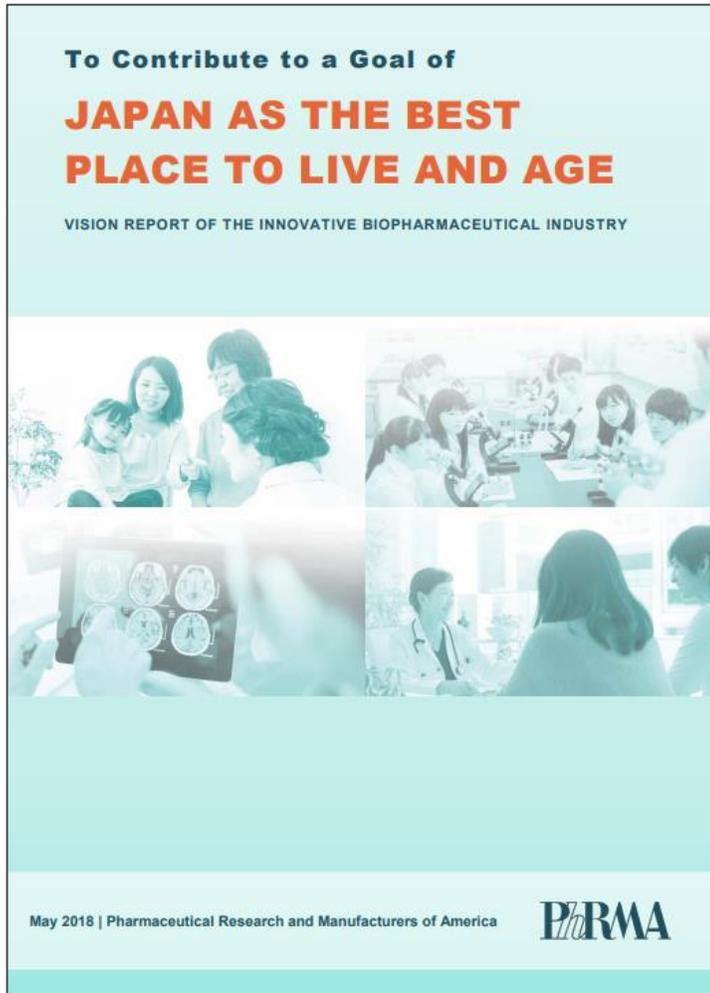
HTAを償還の可否の判断材料にしない。

### 薬価の毎年改定

革新的医薬品の薬価を毎年改定すれば、日本市場への投資に悪影響を及ぼしかねません。

隔年の価格改定制度を維持し、革新的製品の創出を確保する。

# PhRMAビジョンレポート



- 研究開発型製薬産業が「健康長寿社会の実現」という日本の目標達成に貢献するため、**建設的な提案**を行うべく、このビジョンを策定しました。
- 「**患者第一**」というアプローチを採用し、日本国民への利益に供するという姿勢を再確認しています。
- 業界として医療制度に**最も貢献できる**領域に焦点を当てています。

# ビジョンの実現が日本にもたらす恩恵

## 患者さん

- 医療の改善と健康寿命の継続的改善
- 最先端のイノベーションへ患者さんのアクセスが遅れるリスクを防止
- 患者さんの視点を取り込んだ医療の強化

## 医療制度

- イノベーションへの持続可能な投資の実現
- 一次予防・二次予防の更なる重視により、国民皆保険制度のコスト増を大幅に削減
- データインフラと価値評価の導入による効率改善

## 経済

- 新薬を発見・製品化する日本の取り組みを強化
- 日本が海外企業の直接投資先としての地位を維持できるよう貢献
- 国全体の生産性向上と経済成長に寄与