

2024 年 10 月

日本の創薬インセンティブ政策：望まれる目標の実現を困難とする政策的課題

主な要点

- 日本政府は、国内及び世界の医薬品開発に貢献できる活性化したエコシステムの構築を目指し、創薬力の回復に向けた取り組みを積極的に進めている。
- しかしそのような努力は、イノベーションに対する日本の薬価制度に残る制約により、なし崩しにされるという状況が続いている。日本が研究開発を促進し革新的な治療法をより速く開発したいと明らかに望んでいる希少疾病や小児疾患という重要な領域での新規医薬品においてさえ、である。
- アジア・グループ（TAG）では、厳格な**原価開示要件**、特に原価ベースの価格算定方式のもとに定められた「加算係数ゼロ」ルールが、小児・希少疾病用医薬品の開発および承認についての日本政府の5か年計画に示された目標を含め、画期的新製品を日本市場にもたらすという政府目標を直接的に損なうものであると評価する。
- 日本政府は、**それらのルールを修正するか、あるいは革新的な医薬品に対する報奨制度や価格算定のための全く新しい方法を導入するかのいずれかを検討し**、製品上市時にその価値を的確に新薬薬価に反映できるようすべきである。このような変更により、将来革新的医薬品の日本市場への早期参入が促進され、最終的には患者が恩恵を受け、日本の創薬イノベーション・エコシステムへの貢献・活性化にもつながる。

焦点：日本における創薬の遅延

複雑な薬事行政環境にもかかわらず、多くの製薬会社にとり日本は依然として重要な市場である。日本市場は、2023年には約880億ドルで米国と欧州連合に次ぐ世界第3位であり、2029年には約919.4億ドルになると見込まれる。この予測にもかかわらず、長年の厳しい薬事規制と相まった価格引き下げ圧力のため、新薬の日本上市を遅らせることを検討する製薬会社が増えている。

製薬会社による市場の再評価により、日本のドラッグ・ラグ問題が再浮上することとなった。この問題は2010年代に既に解決されたと思われていたが、我々は今日また日本の医薬品開発エコシステムの弱体化を目の当たりにしている。日本が現在、創薬分野で競合国に明らかに遅れをとっていることは、データが示している。例えば、図1は新規有効成分



(NAS) の主要市場における上市件数を示すが、日本は 2023 年にわずか 20 件の NAS を上市したに過ぎず、米国、欧州連合、中国に遅れをとり 2014 年以来最下位となっている。

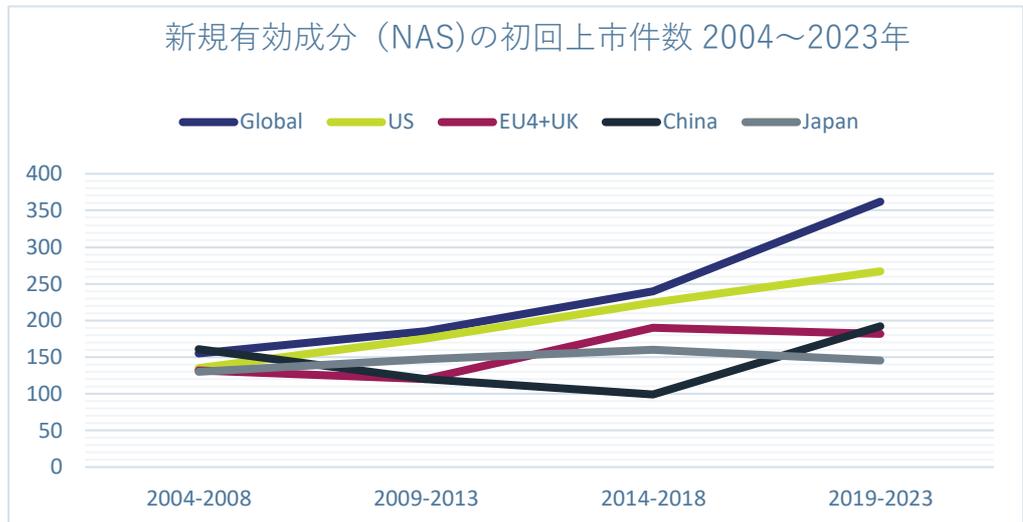
図 1: IQVIA による新規有効成分の分析

日本政府は、革新的製品の上市を誘致し創薬に弾みをつけるために、自国の薬事政策を改革する必要があることを認識している。国会議員、厚生労働省

(MHLW)、その他の重要な利害関係者は、制度全体の活性化を目標

に、既存の製薬企

業と革新的な新興企業の双方に悪影響を及ぼす規制に対処するため、2023 年に精力的な議論を行った。



出典: IQVIA

こうした議論により、2024 年度の医療制度改革において、長らく待ち望まれていた前向きな変革が現実のものとなった。規制と薬価算定の課題、投資、研究開発 (R&D)、人的資本の育成といった問題に関して、業界関係者間の対話と透明性確保に向けた日本の新たなアプローチは、市場の再活性化にとって重要かつ歓迎すべき一歩となった。しかし、2024 年度の薬価制度改革が実際にドラッグ・ラグ問題の解決に効果を発揮するまでには何年もかかるだろう。

同時に、長年にわたる薬価のマイナス改定から製薬業界のエコシステムが回復するには、更なる改革が必要である。日本政府が 2024 年度の改革を足がかりにして追加の短期的措置を講じることで、エコシステム回復の動きを前進させることは可能である。

端的に言えば、日本が独自の革新的創薬エコシステムを発展させ、マサチューセッツ州ボストンやカリフォルニア州サンディエゴにある創薬クラスターをモデルにすることを目指している今、革新的な企業にとっての障壁や不利益を生む未解決の課題を積極的に特定し、対処する必要がある。

本分析において TAG は、**原価ベースの薬価算定方式のもとで革新的医薬品が直面する課題が、革新的企業の負担となり続け、最終的には、活力ある創薬エコシステムを構築しようとする政府の取り組みを損なうものであることを実証する。**



日本の医薬イノベーションにおける優先順位

2024年度の薬価制度改革は、政府が医薬品への支出を制限するための厳しい措置に重点を移した2016年以来、業界の方針と規制環境に対し最も前向きな変化をもたらした。2024年度改革に至った議論は、特に新型コロナの大流行後に、ドラッグ・ラグとドラッグ・ロスの拡大を是正するため、日本がよりイノベーションを受け入れやすい態勢をとる必要があるということを政府が認識したことに基づいていると思われる。

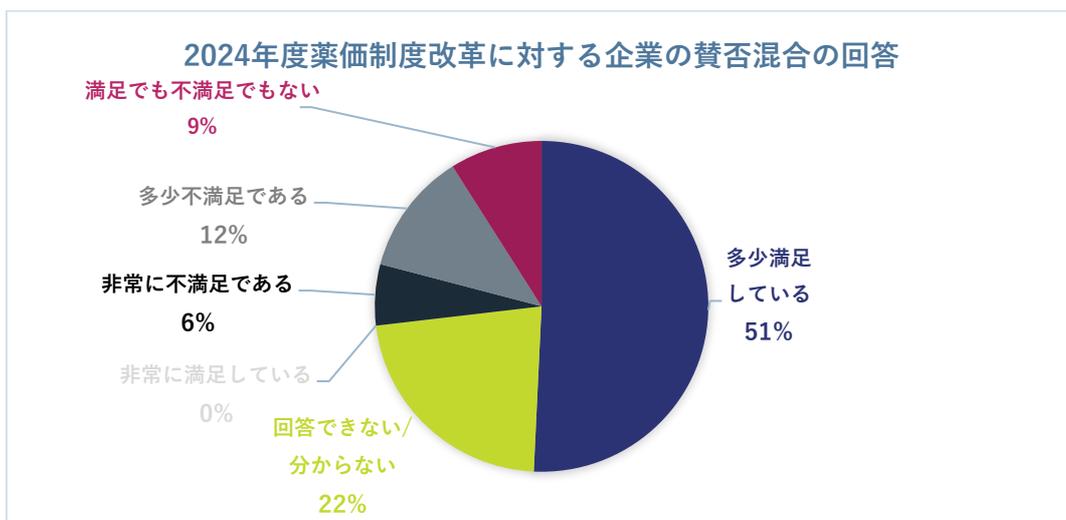
長い間待ち望まれた2024年度改革には、新薬創出加算（PMP）の修正と市場拡大再算定ルール調整が含まれ、さらには迅速導入に対する新規加算が追加された。これらの施策はすべて、長年にわたるコスト削減政策からの一次的解放として歓迎された。さらにこれらの改革は、革新性の点で世界的に遅れをとり始めた日本の創薬エコシステムを活性化させる第一歩として受け止められた。

2024年度薬価制度改革に対する企業の見解

全体として、民間企業は2024年度の改革施策を歓迎している。改革の最終内容の詳細が確定した直後に実施された本年3月のじほう社のアンケート調査では、対象となった84社の51パーセントが改革にある程度満足していることが示された。3月5日に行われた別のアンケート調査では、回答した61社の大多数がPMPの更新、有用性加算の新規評価項目、および迅速導入加算の追加を強く支持していた。

2024年度改革への明確な支持の一方で、「加算係数ゼロ」ルールなどの未解決の重要課題に対処していないことや、不適切な比較対象薬を用いずに医薬品価格設定を行う代替評価方法が提案されていないことに調査対象企業から失望感が示された。

図2：2024年度薬価制度改革（2024年3月）に対する企業の賛否混合の回答



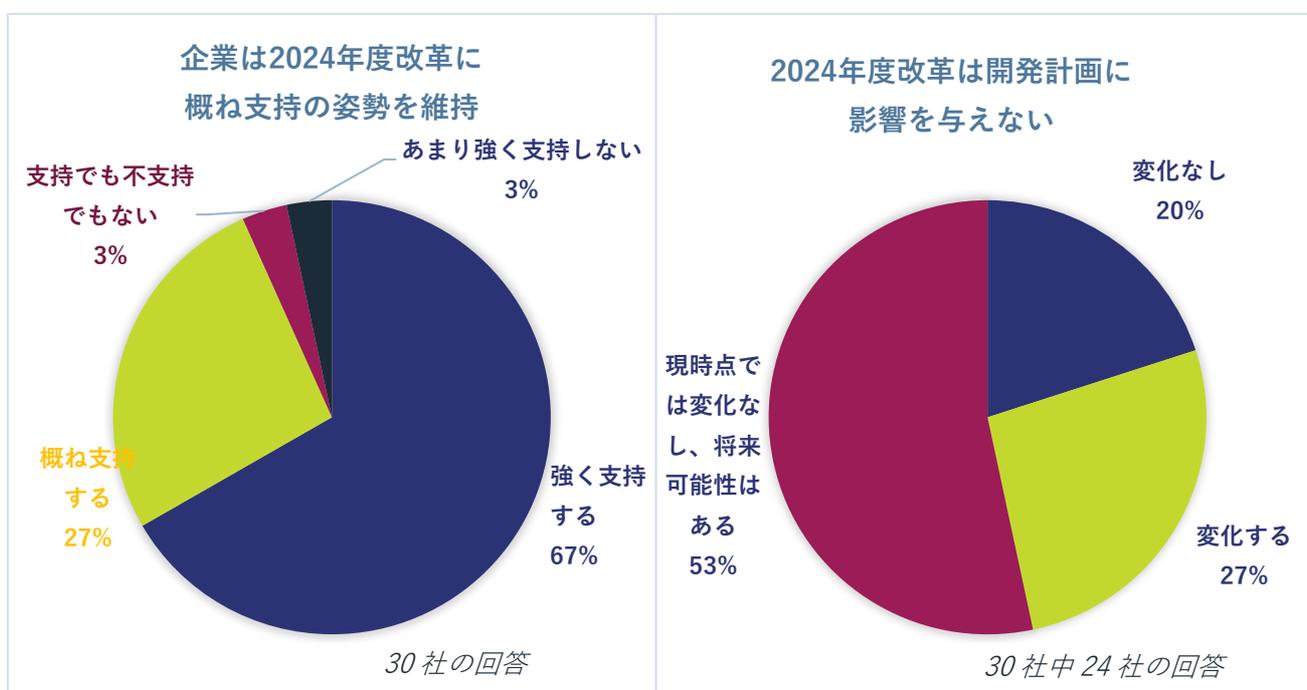
出典：2024年3月 株式会社じほうアンケート



日本製薬工業協会（JPMA）、米国研究製薬工業協会（PhRMA）、欧州製薬業団体連合会（EFPIA）が30社に対して行った2024年8月の合同アンケート調査においても、更なる改革への強い関心が示された。回答企業は、2024年度改革を前向きに捉えているが、改革内容が政府が望むような企業行動の変化を含む即効性のある結果を生むかどうかについては懐疑的な見方を示している。

調査対象30社のうち18社が、2024年度改革により投資先として日本市場を重視する度合いが「高まる可能性がある」と回答し、12社は「変化なし」と回答した。さらに、この改革は日本での開発計画にプラスの影響があったと8社が回答し、16社は「現時点では変化はないが、近い将来にはあるかもしれない」と回答した。

図3：2024年度薬価制度改革についての合同アンケート調査（2024年8月）への回答



出典: JPMA、PhRMA、EFPIAによる合同アンケート (2024年8月)

改革が2024年4月から実施されたことを考慮すると、より不利な政策が何年も続いた後に企業の意思決定に持続的な影響を与えることについて、政府は合理的な期待を持つべきだ。日本での上市という企業の意思決定にインセンティブを与え、より広範な政府の目標を達成するためには、さらなる前向きな改革必要であるように思われる。

政府の優先順位の変化

2024年度改革の施行後、日本政府の主な関心事は、薬価算定改革か医薬品産業におけるイノベーションと成長、特に新興企業への支援に主眼を移したように見える。この支援は政



府の最高レベルからのものであり、業界のリーダーにより特定された特定の課題に取り組むという前例のないコミットメントを示している。

村井秀樹内閣官房副長官（当時）を議長、鴨下一郎内閣官房参与（当時）を副議長とする閣僚レベルの会議（創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議）が開催され、中間報告書を作成するなど、政府担当者は、これらの課題に関する実質的でハイレベルな話し合いを推進した。また「経済財政運営と改革の基本方針 2024（骨太方針）」の中でも、イノベーションの推進に例年以上に重点が置かれた。

厚生労働省と武見敬三厚生労働大臣（当時）は、日本の医薬品のエコシステムを活性化するための取り組みや、産業界との関わりを拡大する取り組みと同様に、最近の改革の取り組みの多くを推進してきた。武見大臣の働きかけにより、製薬セクターは日本経済の中核と位置付けられ、政府の最上層からその成長を支援する声上がり、7月30日には岸田文雄首相（当時）主催の「革新的創薬エコシステムサミット」が開催された。このイベントは、岸田内閣がイノベーションの推進と日本への投資という両面において、製薬産業への直接支援を見せつけるものとなった。

岸田首相は「医薬品産業を成長産業および基幹産業と位置付け、政府として民間の更なる投資を呼び込む体制の整備に必要な予算を確保し、政府を挙げて [村井・鴨下] 創薬力構想会議による提言を具体的に進めていく」ことを表明した。政府は、創薬推進5か年計画、サミットで示された主要目標、2025年に開始される官民対話のガイダンスを活用し、創薬エコシステムを発展させるという目標を達成する予定だ。

薬価算定について更なる対話が必要

これらのコミットメントは、日本が国民の健康と福祉を確保し、国際競争力のある製薬セクターから経済的利益を得るために、ダイナミックで革新的な創薬エコシステムが必要であるとの認識を反映したものである。しかし、イノベーションに適切に報いるため日本の薬価制度を改革できなければ、こうした努力は台無しになるであろう。

進歩があったとはいえ、懲罰的な薬価算定政策は、企業の製品（特に新規医薬品）上市能力や意思決定に影響をおよぼし続けている。こうした問題は、日本のドラッグ・ロス及びドラッグ・ラグの傾向を永続させることになりかねない。

自己矛盾するイノベーション・インセンティブ

日本の創薬エコシステムを再活性化するための取り組みは、革新的な製品の発見と商業化、特に主要なドラッグ・ロスおよびラグ領域として特定されている小児用と希少疾病用医薬品を中心に進められている。

政府が新たに発表した5か年計画の第一の柱は、「国民に最新の医薬品を迅速に届ける」という目標のもと、具体的なターゲットを示している。政府は、2024年度から2028年度



にかけて以下のような複数の治療分野での開発促進を目指している：1) 小児用医薬品の開発計画策定 50 件、2) 希少疾病用医薬品の承認 150 件などである。

ただし、最も革新的な新薬（多くの小児用・希少疾病用医薬品が含まれる）は**原価ベース方式で価格算定される**。この仕組みに変更を加えなければ、現行ルールが日本の取り組みの妨げとなり続けるであろう。

原価ベース価格算定方式

原価計算方式とも呼ばれる原価ベース方式は、上市の際に比較対照薬が日本市場に存在しない場合の製品価格設定に用いられる。この方式では、製造原価、研究開発コスト、販売・運営・流通コスト、そして消費税の推定費用に関する情報を企業が開示することが求められる。その上で、革新性、有用性、市場性、先駆け審査指定、2024 年 4 月以降は早期導入の基準など、一定の基準に基づいて加算が適用される。

原価ベース方式には有用な面もあるが、重大な欠点もある。

図 4：原価ベース方式のメリットおよびデメリット

	メリット	デメリット
原価ベース方式： 「加算係数ゼロ」 ルール	<ul style="list-style-type: none">このシステムは、加算取得を目指す製造企業が提出する総原価の透明性を高めることを促すものである。段階的な採点システムにより、原価開示におけるばらつきがある程度許容される。	<ul style="list-style-type: none">多くの場合、複雑なサプライチェーンオペレーションの中で原材料費の算定が難しいため、原価開示度が不十分になるのは避けられない。「加算係数ゼロ」ルールは、薬価算定の革新に対して与えられる加算を、2024 年度改革で新たに導入された加算を含め、完全に打ち消している。認定された加算の取り消しにより、日本市場への参入を企図したスタートアップ企業が最も深刻な打撃を受けることになる。

全般的な課題：原価ベース価格算定方式は革新的医薬品に適用される唯一の価格算定方式であるため、日本市場に参入しようとする新薬は、この方式に伴う共通の課題に直面している。例えば、この算定方式は、研究開発コスト、治験コスト、日本以外での失敗に終わるも有益情報が得られた段階的な開発サイクルのコストなど、海外で実施された創薬活動



に要したコストを原価要素として考慮していない。従って最終薬価は、新製品開発に投入された真の総コストを正確に反映しないことになる。サプライチェーンが複雑で、開発から商業化までの製品ライフサイクルの全段階で日本での開発にかかわるコストを定義する必要があるため、この価格決定方法の使用は、企業にとっても規制当局にとっても難しいものになる。

従来企業は、自社の海外展開製品の価格（移転価格）も参照にしてきた。しかし、厚労省担当者は、海外での価格算定方式に透明性がなく、評価認定された加算の適用を正当化するために移転価格を使用することは困難であると主張している。

「**加算係数ゼロルール**」：透明性を促進する新たなルールが2018年度に導入された。それは、原価データ開示度が低い場合に、イノベーションに付与する加算額を減らすため、1、0.8、または0.2という加算係数を原価開示度に応じて加算率に乗じる形で適用することで運用された。薬価の透明性をさらに向上させ、最も適正な価格算定を行う試みとして、2022年度には原価開示度が50パーセント未満の場合、最低加算係数が**0.2からゼロへと更に引き下げられた**。

従来の枠組みでは加算額が最大80パーセントまで削減される可能性があったが、革新的製品には部分的に何らかの加算が維持されていた。しかし、2022年度以降、成功し好評を博した「先駆け」プログラム（日本国内で開発された製品対象）や2024年度薬価制度改革（迅速導入加算を含む）のもとに認められた加算でさえも、原価開示度が最低限度に満たない場合、革新的製品に付与されていた加算が全て取り消されてしまった。

2022年に施行された「加算係数ゼロ」ルールは、これまで23品目に適用された。

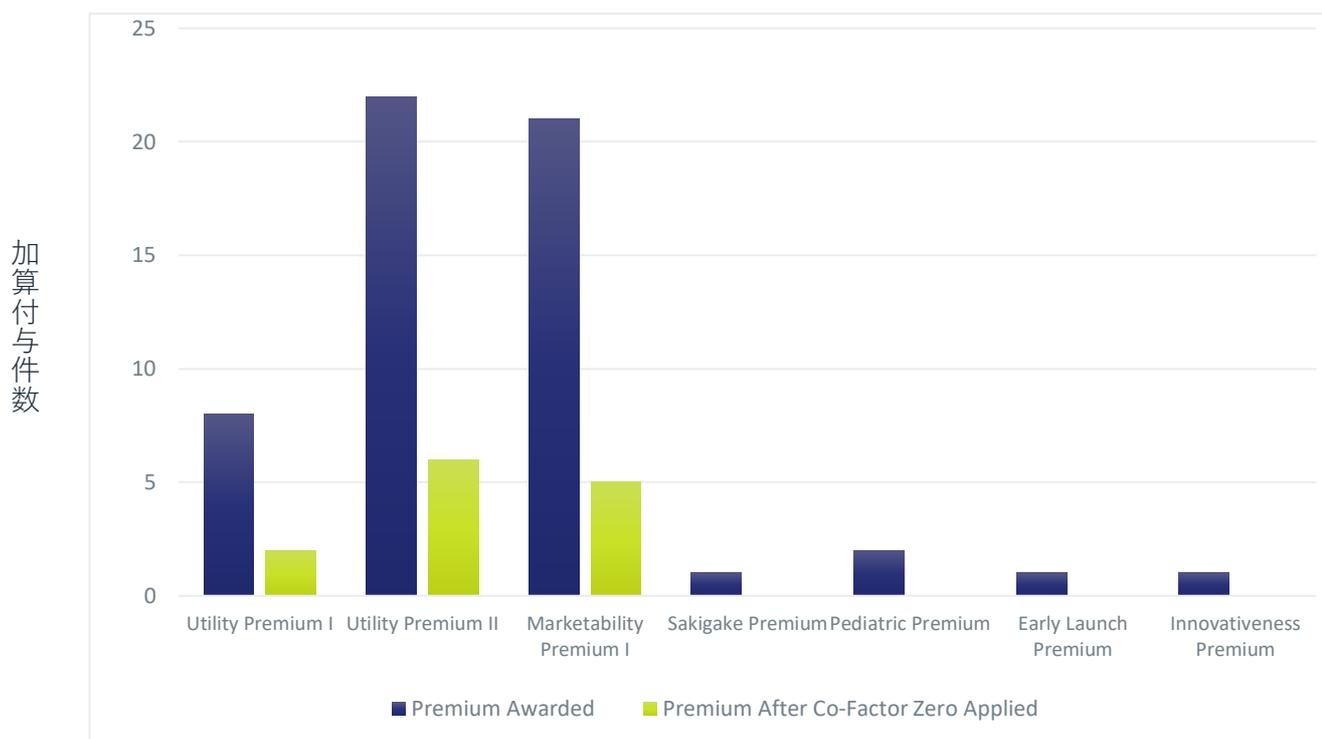
- 2022年4月から11月までの間に、13品目が原価ベース方式で価格設定され、そのうち10品目が5～30パーセントの範囲で上市時加算可能と評価された（表5）。しかし、「加算係数ゼロ」ルールがこれら10品目すべてに適用され、加算がすべて消滅した。これらのケースのうち注目すべきはサノフィのゼンフォザイムで、「加算係数ゼロ」で、「先駆け」指定加算1つを含む3種類の加算が帳消しにされた。
- 2023年には上市時加算を得ていた薬剤は10品目あったが、そのうち8品目がこのルールにより加算を失った。
- 2024年現在、12品目が原価ベース方式により価格算定がされている。4品目が加算額を満額、3品目が総加算額の60%を受け取ったが、5品目は「加算係数ゼロ」ルールの影響を被った。これらの医薬品には、米国に拠点を置くアレクシオンファーマと日本に本社を置くノーベルファーマの製品が含まれており、加算係数ゼロにより、前者では2024年度に新設された迅速導入加算が帳消しとなり、後者では希



少疾病用新薬創出加算だけでなく6年ぶりに認められた画期的加算までもが失われた。

「加算係数ゼロ」ルールの導入以降、最も注目すべき事例はサノフィの「ゼンフォザイム」だ。「ゼンフォザイム」は2022年の上市時、加算係数ルールにより先駆け指定により認定された加算が消滅した。先駆け指定と加算の獲得のために企業が行った努力を考慮すると、これは業界に大きな動揺を与えた。2024年に上市されたノーベルファーマの「サルグマリリン」が画期的加算を失ったことも特に注目に値する。同社は6年ぶりに画期的加算を獲得した日本企業で、同加算が認められた6社目であったにも関わらず、加算が消滅した。アレクシオンファーマの「ポイデヤ」は、2024年度薬価制度改革実施後に初めて加算が認められた製品であったが、加算係数ルールによりそれが最終薬価に反映されなかった。

図5：原価ベースの薬価算定方式のもと付与された加算（2022～2024年）



出典：厚生労働省薬価基準収載品目リスト

こうした加算の消失は、現行の薬価算定制度が、2024年度薬価制度改革の有効性、業界の成長とイノベーションを促進するという政府の表明、そして希少疾患や小児用医薬品の開発に注力する企業に報奨を与える目的などを損なっていることを示唆している。同時に、ルールに従う意思がある、あるいは従うことができる企業が少ないため、「加算係数ゼロ」ルールは透明性の実現をほとんど達成していない。



日本製薬団体連合会（FPMAJ）は、多種多様な商取引、製造および運営コスト、輸入プロセスに関する詳細な原価情報を得ることが困難であるため、原価開示度が低くなることが避けられないケースが多いことを指摘している。

2022年12月に開催された薬価制度改革についての厚労省有識者会議において、法政大学経済学部の菅原琢磨教授は、現行の価格算定方式は、医薬品バリューチェーンの複雑性のため、業界の現状に合っていないと主張した。*PhRMA*（米国研究製薬工業協会）*Japan*によると、業界代表者も、現行ルールは「イノベーションが薬価収載価格に反映されるのを完全に阻止するものであり、原価開示度を向上させる努力を妨げるものである」との懸念を表明した。

最近では、厚労省と中央社会保険医療協議会（中医協）の関係者が、新薬創出加算への影響を考慮し、同ルールを詳しく検討している。

政府当局者が原価の透明性にインセンティブを与えたいと考えるのは理解できるが、コントロールが不可能な要因に対して企業に罰則を科すためにこの方法を用い続けることは、日本が革新的な医薬品をより多く市場に取り入れようとする動きを抑制するだけである。このような認識は、この制度をどのように改革するか当局者に検討させるまでに至っている。

結論と提言

アジア・グループ（TAG）は、原価ベース方式および「加算係数ゼロ」ルールは、活気あふれるエコシステムを構築し、アンメットニーズのある分野において重要な医薬品の開発を呼び込む、という日本政府の取り組みの障害となり続けていると評価している。「加算係数ゼロ」ルールは、複雑なサプライチェーンの現実を考慮すると、実際には透明性を高めるものではなく、むしろグローバルシステムへの統合を進める企業にペナルティーを与えている。

特に、日本での上市を目指しているスタートアップ企業にとって、原価ベース方式は、早期製品導入の際に商業的失敗を許されない企業に取り、市場への参入をより困難にする障害要因と罰則環境を生み出す。こうした企業は、日本で成功を収めない限り、さらなる技術革新での市場参入を実現できない。現行のパターンが続けば、企業が新薬や治療法を日本以外の他地域で優先して上市するようになり、日本は世界的ランクで下位へと押しやられるようになるであろう。

TAGは、原価ベース方式に起因する問題に対処し、より魅力的で経済的見返りのあるエコシステムを構築するために、日本政府が検討すべきものとして、以下のような行動計画（即時の変更/即時の影響、長期的な変更/長期的な影響という選択肢）を提言する。



提言事項	
即時の変更/即時の影響	長期的変更/長期的影響
<ul style="list-style-type: none">• 係数システムを完全に廃止し、各製品が対象となる全ての加算を確実に受け取れるようにする。• 原価ベース方式に代り、類似薬効比較方式により価格算定が可能な医薬品の範囲を拡大する。• 原価ベース方式で価格を算定した製品については、製品が新薬創出加算に適格であれば直ちに原価透明性（原価開示）のルール適用免除を開始する。	<ul style="list-style-type: none">• 国際的な研究開発に基づく価格算定のために、原価ベース方式に置き替わる新たな価格算定方式を策定する目標期日を設定する。<ul style="list-style-type: none">○ そのような方式には、日本以外の原価要素、すなわち日本国外での研究開発コスト、治験コスト、日本国外で失敗に終わるも有益情報が得られた段階的な開発サイクルのコストなど、を考慮に入れるべきである。

このような変更が実施されるとしても、医療費全体から見れば、日本にとって過大な負担にはならない。このような変更は、新興企業などの市場参入のプロセスと成功率を大幅に緩和するだろう。これはひいては製薬業界の成長を促進し、日本の医療全体にとってよりダイナミックな創薬エコシステムを促進することにつながるだろう。