

厚生労働行政推進調査事業費補助金

地域医療基盤開発推進研究事業

医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する
薬価上の評価指標の開発に資する研究

令和6年度 総括・分担研究報告書

研究代表者 成川 衛

令和7(2025)年3月

この研究報告書は、令和6年度において、厚生労働行政推進調査事業費補助金（地域医療基盤開発推進研究事業）24IA2014を受けて実施した研究の成果をまとめたものである。

目 次

I. 総括・分担研究報書

「医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する薬価上の評価指標の開発に資する研究」

研究代表者 北里大学薬学部 教授 成川 衛

研究分担者 城西国際大学薬学部 教授 小林 江梨子

研究分担者 国際医療福祉大学成田薬学部 准教授 間宮 弘晃

(別添 1) 欧州企業への調査概要

(別添 2) 国内有識者ヒアリング結果

(別添 3) 最近の新薬薬価算定の状況

(別添 4) 類似薬効比較適用状況調査

II. 研究成果の刊行に関する一覧表

III. 倫理審査等報告書の写し

医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する
薬価上の評価指標の開発に資する研究

総括・分担研究報告書

研究代表者 成川 衛 （北里大学薬学部教授）
研究分担者 小林 江梨子 （城西国際大学薬学部教授）
間宮 弘晃 （国際医療福祉大学成田薬学部准教授）

研究要旨

我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進するために薬価制度を含めた対策を提言することを目的として、現行の薬価制度における課題の抽出、欧州諸国での薬価設定の基礎となる考え方の整理等を行った。具体的には、欧州製薬企業のマーケットアクセス担当者等に対する調査、医療政策・経済学等を専門とする国内の有識者からのヒアリング調査、最近の新薬薬価算定の状況調査（有用性加算、類似薬効比較方式の適用状況など）である。得られた情報をベースとして、また、引き続き情報をアップデートしながら、次年度の研究において、我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進することを目指した具体的な薬価上の評価手法案について検討を行っていくこととする。

A. 研究目的

令和6年度（2024年4月）薬価制度改革においては、「我が国の創薬力強化とともに、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消を実現するため、革新的新薬のイノベーションの適切な評価を推進するための薬価上の措置を行う」との方針に基づき、革新的新薬に対する有用性評価等の充実が一定程度図られた。しかしながら、ここ数年間における国内未承認薬の増加を危惧する声も多く、薬価上の評価に起因する欧米諸国と比較した日本の魅力度の低下がその一因として指摘されている。今後も、革新的な医薬品や再生医療等製品の早期上市に向け、薬価制度のみならず、薬事制度、研究開発環境などへの全体的な対応を引き続き検討していく必要がある。

このような背景を踏まえ、本研究では、革新的な医薬品等の早期上市を促進することを念頭に、現行の薬価制度における課題を整理

し、医薬品等が有する価値を適正に評価するための薬価制度を含めた対策を提言することを目的とした。

B. 研究方法

研究初年度である本年度は、我が国の現行の薬価制度における課題の抽出、日本と同様に公的医療保険制度が整備されている欧州諸国での薬価設定の基礎となる考え方の整理等のために以下の研究を実施した。

1. 欧州製薬企業に対する調査

2024年11月から2025年1月にかけて欧州製薬企業7社を訪問し、同社のマーケットアクセス担当者等から、近年承認を取得した又は開発中の新規性の高い医薬品・治療法に係る保険償還やリストプライスを設定する際の基礎となる考え方を聴取した。質問事項の概要は以下の通りである。

1. 提案価格を設定する際のベンチマーク（参照）としてどのようなものを想定したか。そのベンチマークをどのような視点で、あるいはどのような事項を考慮して選定したか。ベンチマークの候補となる既存治療が非常に安価な場合、どのような対応を取るか。
2. ベンチマークをベースに、どのような要素を考慮して（積み上げて）提案価格としたか。薬事承認取得のためのデータとは別に、保険者との価格交渉のために収集・提示した情報はあるか。
3. 上記 2 の要素には、臨床試験データのように直接金銭的に測定できない項目があるが、それらをどのように金銭的な価値（価格）に置き換えて提案価格としたか。
4. 上記 2 の要素の中で、保険者側が評価しなかった要素があるか。
5. 提案価格の設定に先立って保険者へのインタビューを実施する場合、その結果をどのように利用するか。
6. 保険者との価格交渉の中で、薬事承認された効能の範囲よりも保険償還の対象となる患者の範囲が狭められた経験はあるか。その根拠データは何か。

2. 国内有識者からのヒアリング調査

現行の薬価制度における課題を整理し、医薬品等が有する価値を適正に評価するための薬価制度のあり方に関する今後の議論に活用する目的で、2024 年 10 月から 2025 年 2 月にかけて、医療政策・経済学等を専門とする国内の有識者に対してヒアリング調査を行った。主な質問事項は以下の通りである。

1. 現行制度では評価が困難な医薬品等の価値
2. 新規モダリティや革新的医薬品の将来の価格設定のあり方、原価計算方式の課題
3. 費用対効果評価の位置づけや課題
4. その他

3. 最近の薬価収載品目の状況調査

(1) 最近の新薬薬価算定の状況

2018 年 4 月から 2025 年 3 月までに薬価基準に収載された新薬における有用性系加算の加算率及び適用された定量的評価の項目、市場性加算及び小児加算の適用、原価計算方式による算定品目の原価の開示度を整理し、令和 6 年度薬価制度改革の前後で比較した。

(2) 新薬の薬価算定における類似薬効比較方式の適用状況に関する調査

2018 年 4 月から 2025 年 3 月までに薬価基準に収載された新薬のうち、類似薬効比較方式（Ⅰ）による算定品目について、新薬及び最類似薬の特性を整理分析した。

C. 研究結果

1. 欧州製薬企業に対する調査

欧州製薬企業 7 社のマーケットアクセス担当者等から、近年承認を取得した又は開発中の新規性の高い医薬品・治療法に係る保険償還やリストプライスを設定する際の基礎となる考え方を聴取した。質問事項に対する回答や考え方は企業間で必ずしも一致するものではなかったが、多くの企業から概ね共通項的に得られた内容は以下の通りであった。

- 新規性の高い医薬品について提案価格を設定するには、（効能が異なっても）類似の疾患群に対する薬剤又は類似の作用機序を有する薬剤の価格をベース（ベンチマーク）に考えることが多い。疾患の類似性の判断においては、アンメットニーズや疾病負荷のレベル、市場規模も考慮する。
- ベンチマークが非常に安価な場合は、有効性等の差別化に加え、医療費削減効果や患者の負担軽減等のデータに基づいて価格の正当化を試みる。
- ベンチマークをベースとして、臨床効果、医療費削減効果（入院回避や治療回数削減など）、患者の利便性向上を要素として考

慮する。

- 臨床試験で示された価値を金銭的な価値に換算するための単純な手法はない。
- リアルワールドデータや間接比較に基づくデータが評価されない国は多い。QOLや介護負担軽減に関するデータも同様である。
- 保険者との早期の対話は重要であり、ルーチンベースで行っている。その後の開発計画に生かすとともに、将来の価格交渉資料にも反映される。
- 薬事承認された効能の範囲から、効果の大きさや費用対効果評価結果に基づき、一部のサブグループを除いて保険償還対象にすることはある。あるいは、一つの効能の中のサブグループ間で費用対効果が異なる場合、重みを付けて製品価格自体を調整する場合もある。

(詳細は別添 1 を参照)

2. 国内有識者からのヒアリング調査

医療政策・経済学等を専門とする国内の有識者 5 名から、現行の薬価制度の課題、革新的医薬品等の将来の価格設定のあり方などについて意見を聴取した。様々な意見や考え方を把握することができた。主な内容は以下の通りである。

- 新規薬剤がもたらす社会的なインパクト(社会的なコスト削減など)をどのように薬価に反映させるかは課題である。
- 画期的な新薬の薬価について企業提案のような形があってもよいが、その場合は、市場に出た後の再評価を厳しく行う必要がある。他方、薬価について企業届出制を認めるとなると、診療報酬本体にも影響することが危惧される。
- 原価計算方式は本来の例外的なものにのみ適用すべきである。費用対効果評価における比較対照の選定は、類似薬の範囲の拡大を検討する際の参考になる。

- 上市の段階で効果の不確実性がある場合には、国・支払側がリスクを取りすぎている場合もあるので、市販後に見直しをしてもよい。長期予後のデータは重要である。
- 費用対効果評価の不確実性は大きく、一意に定まるものではない。評価結果に基づいて保険適応の範囲を絞る、診療ガイドラインに反映させるという対応があってもよい。

(詳細は別添 2 を参照)

3. 最近の薬価収載品目の状況調査

(1) 最近の新薬薬価算定の状況

2018 年 4 月から 2025 年 3 月までに薬価基準に収載された新薬 383 品目(成分)のうち 165 品目に対して画期性加算、有用性加算(Ⅰ)又は(Ⅱ)が適用された。適用品目の割合は、令和 6 年度薬価制度改革前の算定品目が 41.0% (129/315)、改革後が 52.9% (36/68)であった。加算率については、薬価制度改革前に比べて改革後において、有用性加算(Ⅱ)では 10%又は 15%が適用された品目が、有用性加算(Ⅰ)では 40%又は 45%が適用された品目が相対的に増加した。適用された定量的評価の項目は、①臨床上有用な新規の作用機序－b [薬理作用発現のための薬剤の標的分子が既収載品目と異なる]、③対象疾病の治療方法の改善－a [既存の治療方法では効果が不十分な患者群あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる]、b [対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる]、c [既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い又は使用に際しての利便性が著しく高い]が多く、令和 6 年度薬価制度改革の前後で大きな傾向の変化は見られなかった。

市場性加算(Ⅰ)については、薬価制度改革後は 15%の加算率が適用された品目が 3 品目(改革前は 0 品目)あり、小児加算につい

ては、10～20%の加算率が適用された品目が11品目（改革前は3品目）あった。

原価計算方式による算定品目における原価の開示度は、80%以上の品目が24%、50%以上80%未満が13%、50%未満が64%であり、令和6年度薬価制度改革後は、開示度50%未満の品目の割合が減少し、50%以上80%未満の品目の割合が増加した。

（詳細は別添3を参照）

（2）新薬の薬価算定における類似薬効比較方式の適用状況に関する調査

2018年4月から2025年3月までに薬価基準に収載された新薬383品目（成分）のうち230品目が類似薬効比較方式（Ⅰ）により算定された。これらの中で、新薬と最類似薬の類似性の判断項目（効能・効果、薬理作用、組成・化学構造式、投与形態）が全て同じであったものが38品目あり、残りの192品目についてはいずれか1つ以上の項目が異なっていた。

新薬と最類似薬で効能・効果が「異なる」と分類されたものが19品目あった。この中で、新薬と最類似薬の有効成分が同一（配合剤で有効成分が重複するものを含む）であった7品目を除いた12品目について詳細を調査した結果、新薬と効能・効果が異なる医薬品が最類似薬に選定された場合であっても、両者の効能・効果は同じ疾患群に属する、症状が重複するといった一定の共通性が認められた。また、全ての品目において新薬と最類似薬の組成・化学構造は共通であり、各々2品目を除いて薬理作用又は投与形態が同じであった。

（詳細は別添4を参照）

D. 考察

我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進するために薬価制度を含めた対策を提言することを目的として、本年度の研究では、

現行の薬価制度における課題の抽出、欧州諸国での薬価設定の基礎となる考え方の整理等を行った。

日本と同様に公的医療保険制度が整備されている欧州諸国に本社を置く製薬企業のマーケットアクセス担当者からのヒアリング調査では、新規性の高い（比較対照を容易に選定できない）医薬品の提案価格を設定する際のベンチマークの設定やそれをベースとした価格積み上げ時の要素など、アプローチの概要を把握することができた。また、医療政策・経済学等を専門とする国内有識者からのヒアリング調査では、現行の薬価制度では評価が困難な医薬品等の価値、革新的医薬品等の将来の価格設定のあり方などについて、柔軟かつ幅広い視点からの意見を収集できた。これらの情報も加味しながら、次年度の研究において、将来の薬価制度のあり方について具体的な検討を行っていくこととする。

最近の新薬の薬価算定状況の調査では、有用性系加算が適用された品目の割合は増加傾向にあり、その際の加算率についてもルールに示された幅の中でも高めの率が適用されるものが増えてきている。これは有用性の高い新薬の承認が増加していることを反映したものと考えられるが、令和6年度薬価制度改革における有用性系加算の充実・見直しがポジティブな影響を与えていると考える。市場性加算（Ⅰ）及び小児加算についても、ルールの中で高めの加算率が適用される品目が増えてきており、特に、欧米との比較における日本での速やかな上市、国際共同治験への日本人患者の積極的な組入れ、低年齢小児を含めた適応取得などがポジティブに評価されている。原価計算方式による算定品目における原価の開示度については、最近改善されてきているようにも見えるが、開示度50%未満の品目が過半数を占めており、今後の検討課題である。

また、最近の類似薬効比較方式（Ⅰ）による算定品目における最類似薬の特性や選定範囲の調査では、新薬と最類似薬で効能・効果が異なる場合であっても、同じ疾患群に属する、症状が重複するといった一定の共通性が認められ、さらに、その際には薬理作用、組成・化学構造、投与形態には類似性があった。今後、効能・効果等が同一の既存薬がない場合であっても類似薬の範囲や考え方を一定程度拡大して比較薬（最類似薬）の候補となるべき既存薬を拾い上げ、類似薬効比較方式の適用のための検討の俎上に載せるプロセスにおいて有益な情報になると考えられる。

初年度の研究で得られたこれらの結果をベースとして、引き続き情報をアップデートしながら、次年度の研究において、我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進することを目指した具体的な薬価上の評価手法案について検討を行っていくこととする。

E. 結論

我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進するために薬価制度を含めた対策を提言することを目的として、現行の薬価制度における課題の抽出、欧州諸国での薬価設定の基礎となる考え方の整理等を行った。具体的には、欧州製薬企業のマーケットアクセス担当者等に対する調査、医療政策・経済学等を専門とする国内の有識者からのヒアリング調査、最近の新薬薬価算定の状況調査（有用性加算、類似薬効比較方式の適用状況など）である。得られた情報をベースとして、引き続き情報をアップデートしながら、次年度の研究において、我が国における革新的な医薬品の早期上市を促進することを目指した具体的な薬価上の評価手法案について検討を行っていくこととする。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

なし

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし

別添 1. 欧州製薬企業マーケットアクセス担当者への調査結果

別添 2. 国内有識者ヒアリング結果

別添 3. 最近の新薬薬価算定の状況

別添 4. 新薬の薬価算定における類似薬効比較方式の適用状況に関する調査

欧州製薬企業マーケットアクセス担当者への調査結果

■目的

欧州製薬企業マーケットアクセス担当者に対してインタビューを行い、希少疾患や難病などに対する革新的な医薬品、遺伝子治療や細胞療法などの価格付けに関する考え方を整理した上で、医薬品等が有する価値を適正に評価するための薬価制度の議論に活用することを目的とする。

■調査方法

調査期間：2024 年 11 月～2025 年 1 月

調査対象者：欧州製薬企業 7 社のマーケットアクセス担当者

協力企業名は、調査結果末尾に記載。

インタビュー実施者：研究代表者 成川 衛 北里大学

研究分担者 間宮 弘晃 国際医療福祉大学

研究分担者 小林 江梨子 城西国際大学

研究協力者 齋藤 カルメン 城西国際大学

■調査結果

7 社に対し、あらかじめ 1. から～6. までの項目を提示し、インタビューを行った内容について、1. ～6. までの項目と、7. (その他) の項目ごとに取りまとめた。

1. 提案価格を設定する際のベンチマーク（参照）としてどのようなものを想定しましたか？そのベンチマークをどのような視点で、あるいはどのような事項を考慮して選定しましたか？ベンチマークの候補となる既存治療が非常に安価な場合、どのような対応を取りますか？

- 効能が違っていても類似の作用機序や疾患群の治療薬、同じようなレベル感のアンメットニーズの高さがある他の分野の価格を考慮している。他の国で既に上市されていればその価格水準も参考にする。見つからない場合も、何かしらつながり（類似事項）を探して、つながりの大きいものから階層化して順に検討することになる。
- 見つからない場合は、他の分野で類似のアンメットニーズを持つ疾患の治療法（手術等含む）や市場価格を参考にする。ベンチマークが安い場合は、医療費削減効果や患者への負担軽減のエビデンスを提示して価格正当化を試みることになる。
- 類似のものがあれば費用、治療期間、効果を基に評価するが、なければ異なる治療分野の価格を参考とすることになる。ベンチマークが安い場合は、効果や QOL の差別化を図るとともに、患者や医療システムへの総合的な利益（コスト節約）や、支払いモデルを成果連動型や分割払いにすることも考えられる。
- 画期的な治療法を安価な適応外治療法と比較するのは妥当ではない。比較対象を柔軟に選択する必要がある。あらゆる標準治療、アンメットニーズ、適応外治療を考慮。
- 価値を強く考慮した価格設定。疾患に対するすべての標準的な治療を考慮する。標準治療は国によって異なるが、臨床試験や価格設定のための比較対象を見つけるために、すべての国

で主流となっている標準治療を定義するようにする。ただし標準治療は時とともに変化する。

- (超希少疾患用薬や遺伝子治療製品等の開発経験はないので一般論としての回答となるが) 広い意味での類似の薬剤や、場合によっては薬剤以外の治療法のコストを念頭に置くこともある。
- 希少疾患であれば、疾病負荷、経済的評価(患者数、市場規模)などの視点で類似の疾患があれば参考にすることはある。しかし、価格のベンチマークを見つけるというよりも、アンメットニーズ、臨床的価値、追加的有用性など考慮して(考慮の仕方は各国で異なるが)決めることの方が多い印象である。
- 対象薬剤によってもたらせる臨床的有用性、社会的有用性、経済的負荷の他、アンメットニーズ、市場規模など、多数の因子を考慮する複雑な作業となる。一般的な例にはならないが、対象疾患に対する初めての抗体製剤について、有病率や重症度が類似する他疾患に対する既存抗体製剤の価格を参考にしたことはある。

2. そのベンチマークをベースにして、どのような要素を考慮して(積み上げて)提案価格としましたか? また、それらの情報をどのように収集し、提示しましたか? 薬事承認取得のためのデータとは別に、保険者との価格交渉のために収集・提示した情報はありますか?
(以下、例示) 臨床試験データ、RWD、研究開発、製造等のコスト、財政影響

- 患者にとっての価値は絶対的なもの(余命の延長)などである。多くの規制当局は考慮していないが、より広範な社会的影響を考慮すべき。例えば、TNF α 阻害剤とメトトレキサートの比較では、価格は高いが、手術や通院を回避でき、患者は働き続けることができる。全体的な利益、家族や介護者への影響はもっと考慮されるべき。
- より良い生活体験、より少ない副作用、臨床的インパクト、社会的インパクト、介護者へのインパクトなど何を価値とするかの概念を広げる。QALYは高い評価が期待できるが、費用対効果を閾値で使うべきではない。疾患負担が社会に与える影響を理解するための治療影響モデル(アルツハイマーの例)、世界的な疾患負担の集約(疫学データ)、価値の全体像、新しい剤型(投与回数が減り通院が減る)といった患者の利便性。しかし、多くの支払者はQOLデータを評価しないためQOLデータを収集しないことが多い。支払者や規制当局が必要とする(評価する)データを収集する。
- ベンチマーク、アンメットニーズ、臨床効果の3点の要素で価格設定している。臨床効果はOSの延長やPFS改善、症状の緩和などであり、患者と介護者のQOL向上も重視している。それ以外には、医療費削減効果(入院回避、治療回数削減)なども考慮する。
- 疫学(患者数、疾患の発生率)、疾病負担(患者、医療システム、社会への影響)、アンメットニーズ、臨床効果の4点が考慮要素。保険者には入院や医療リソースの低減データが有用なことがある。市販後のRWDは契約改定時などに追加提示することがある。ただし、単純な計算式で積み上げるのではなくValue Based Pricingをしている。良いか悪いかは別として飛行機の空席が多ければ価格が下がるようなDynamic Pricingを日本はしておらず、Value Basedにはなっていない。
- ドイツの交渉ではAMNOGの評価結果で追加的有用性があるかどうかの基本。それに加え

て病院や外来でのコスト削減効果を説明することになる。

- 臨床試験効果、経済影響（治療コスト削減、入院期間短縮）、患者の利便性を考慮する。同じ成分のサリドマイドが過去は安価に、現在は厳格な管理の下で別の効能で高価となっていることや、抗 VEGF 抗体製剤で成分はほとんど同じなのに mg あたりの価格設定は大きな開きがある点など、考慮要素の積み上げというよりは Value based が基本となる。
- 遺伝子治療などの超希少疾患用薬では、QOL や社会的費用など、より広い健康上の利益も積極的に考慮する。利用可能な RWD があれば利用するし、財政影響も考慮する。これらを経済モデルに組み込んで提案価格を作成する。

なお、NICE の評価では、超希少疾患等を対象とした製品については特別な評価スキーム（HST: Highly Specialised Technology としての分析）で取り扱われ、費用対効果評価の閾値が引き上げられる。治癒に至ったり、QOL の大幅な改善をもたらす治療については、高価格が許容される。一方で、一般論として、NICE の評価では modality の違いや新規性は考慮されない。

- 欧州諸国の中でも weighting の仕方は異なり、臨床上の有益性（仏、独など）、費用対効果（英、スウェーデン）、財政影響を重視する国、これらの混合の大きく 4 タイプに分けられる。間接比較、RWD によって幅広い議論を行えるようになる。患者の声を聞くことは、薬剤の評価というよりも、アンメットニーズの把握に役立つ。これらを価格に反映するため厳密な枠組みはなく、議論・交渉時の材料として使うことになる。

RWD については、いったん保険償還を開始しておいて市販後早期の段階で提出を求める国と、保険償還開始時期を遅らせてその間に先行他国での情報を集めさせて判断する国がある。RWD の提出を payer から指示されることはあり、特に local data は歓迎される。それが評価に用いられるかどうかはケースによって異なるが。

- 暫定的に保険償還を開始しておいて、後から RWD を提出するケース（国）はあり、スペイン、イタリアなどは RWD を集積していくシステムがある。間接比較について、希少疾病用医薬品については、規制当局、保険者ともに受け入れられやすい印象を持っている。

3. 上記 2 の要素には、臨床試験データのように直接金銭的に測定できない項目があります（OS の延長や QOL の向上など）。それらをどのように金銭的な価値（価格）に置き換えて提案価格としましたか？また、その価格の妥当性をどのように説明しましたか？

- QOL の向上といった非金銭的価値をどのように評価するかは主観的な決定であり、支払い意欲は患者グループや国によって異なる。
- QOL を金銭的価値に置き換える単純な方程式は存在しない。支払者調査による支払意思や価値評価などは重要。
- QALY ベースで費用対効果の分析をすれば価格に置き換えは可能。ただドイツは費用対効果を実施しないので、仮に長期延命のデータがあれば AMNOG の評価結果が Major や Considerable となり、結果的に価格交渉力を持つことになる。その他は、延命期間と他疾患の治療と比較をすることや、QOL 向上による介護負担軽減を金銭的価値に置き換えることはある。

- 一般的な費用対効果分析も行うが、コスト削減効果（入院回避、治療期間短縮）を提案することや社会的価値（生産性向上や介護負担軽減）で説明することもある。
- 入院や緊急医療の削減効果を数値化してコスト削減で説明する。また長期的なベネフィットについてリアルワールドデータを用いて説明することがある。
- QOL の向上など直接金銭に置き換えられないデータについても、費用対効果分析の中で経済モデルに組み込んで提案価格に反映させることになる。
- 費用対効果モデルに組み込むことが考えられるが、閾値は各国で異なり、同じモデルでも評価・解釈は国によって異なってくる。
- 臨床的な価値等を金銭的な価値に換算する（置き換える）ための単純な手法はない。アンメットニーズと市場規模をベースにして、臨床的有用性、社会的有用性、経済的負担などを個別に考慮していくほかはないのではないか。

4. 上記 2 の要素の中で、保険者側が評価しなかった要素がありますか？その理由とともに教えてください。またそれに対する企業側の考えを教えてください。

- 多くの支払者は、より広範な社会的影響、全体的な利益、家族や介護者への影響はもっと評価されるべきであるが、評価していない。そのほか、特許が切れた時のイノベーションの利益、それは、長い間その医薬品が低価格で提供されること、それが新たな投資につながることに。
- 多くの支払者は、QOL データを評価しない。5. に関係するが、早期の対話は試験計画の立て方に影響するし、重要な臨床試験に QOL を含めることが望ましい。
- ドイツでは特にがん領域は OS に評価が限定されており、PFS は考慮されない。癌の 1 次治療は OS が後治療の影響を受けてしまうので OS に固執するのは適切ではなく、PFS をゼロ評価するのではなく、多少重みをつけて評価してもよいと思っている。また、予算が年度毎に立てられるため、長期的な視点に基づいた説明は理解してもらえないことが多く、短期的な視点に基づいた予算管理がされてしまう。
- RWD や間接比較が評価されない国は多い。また、QOL や介護負担軽減も多くの国で評価されないことが多い。評価しない要素ではないが、財政的な制約が優先される場合も多い。アドヒアランスなども支払い側には関係ない話なので考慮されない。
- AMNOG の評価結果以外で効果を発揮するのはコスト削減効果ぐらいで、それ以外の要素についてはドイツ国内では基本的に考慮されない。
- 客観的な患者関連のエンドポイントが最重要視される。家族や介護者の負担軽減は、直接的な患者利益と見なされない場合がある。また、患者の利便性も考慮されないことがある。
- 例えば 2 型糖尿病用薬について、HbA1C の低下を見る場合と、CV イベントや腎不全の抑制を見る場合で評価は変わってくる。国ごとに保険者の判断は異なる。
- 同じ疾患（薬剤）であっても、評価でどのような点を重視するかは payer、臨床医、患者で異なることがある。その場合は、payer との交渉において、患者が重視する事項について説明し、理解を得る努力をする。一般に、英国ではコストモデルが、他の欧州国では臨床試験（特に RCT）結果が重視される。

5. 提案価格の設定に先立って保険者へのインタビューを実施する場合、その結果をどのように利用していますか？実施結果を保険者等との交渉に利用することはありますか？

- 早期のオープンな対話が重要。研究デザインの不確実性や研究の価値を共有する。また早期の対話は、特定の市場に対する試験を社内で正当化するのに役立つ。
- 支払者との対話は、試験計画の立て方に影響する。英国、カナダにおける初期の科学的ガイダンスプロセス、ほとんどの市場が特定のベンチマークを要求すれば、それは臨床試験に取り入れることで対応できる。早期の科学的協議が必要。一方で、価格はパッケージの一部に過ぎず、優れた医薬品の早期の提供が重要である。
- 回答1と2で設定したベンチマーク、アンメットニーズ、臨床効果を基に設定した価格の妥当性を確認（仮説を検証）するために、保険者インタビューを行っている。また、そこで関心事項や評価基準を把握し、その後の交渉資料に反映している。また、臨床試験結果や薬のプロファイルを提供すれば、各国の過去の薬価等をみて AI が保険者の受容可能性を判定してくれるようなコンサルティングサービスもある。
- 保険者の優先事項、懸念事項、Pain point を理解するために使用する。Pain point は政治的・社会的な圧力で小児治療を無視できない場合などがある。新聞の見出しで批判されるようなことは支払い側も避けたい。
- Early Advice Meeting を活用することがあり、議論の論点や保険者の懸念事項を把握している。
- payer (NHS、NICE、スコットランドの HTA 担当者など) 及び臨床医へのインタビューはルーチンに行っている。意見を聞くのは計 10-20 人程度。開発品目について企業側が気付かなかった点を指摘されるなど有益な機会となっている。インタビューで把握された事項は payer との交渉資料に反映される。
- 主要国における payer インタビューは標準的なプロセスとなっている。臨床試験のデザインについて有益な意見をもらえることがある。ただし、米国以外では現役の payer から話を聞くことは難しいので、ex-payer を対象にすることが多い。
- payer、臨床医、患者への調査はルーチンベースで行っている（現役 payer へのインタビューができない国では ex-payer となる）。同じ疾患（薬剤）であっても、評価でどのような点を重視するかは payer、臨床医、患者で異なる（例えば payer は死亡率、患者は日常業務が実施できるかなど）。Payer からは実薬対照試験を求められたが、敢えてプラセボ対照試験を実施し、重症患者に benefit をもたらすことを別の試験で示した経験がある。

6. 保険者との価格交渉の中で、薬事承認された効能の範囲よりも保険償還の対象となる患者の範囲が狭められた経験があれば教えてください。またその根拠となったデータはどのようなものでしたか？

- 添付文書での効能効果が広範な場合で、その中に有効性に不確実性がある患者グループがある場合、価格が希釈される場合がある。例えば不確実な患者グループに対しては、一定期間（2 年間）データを収集し、評価し、その後価格に反映させるという考え方もあるが、これ

は支払者、企業、医師にとっても非常に時間がかかる仕組みであり、患者アクセスと価格のトレードオフが発生するため、限られた患者数の特定疾患に限って考えるべき。通常は現実のエビデンスを用いて価格調整をする。広範な効能効果に対して、患者集団の利益に対する明確な臨床ガイドラインがあるとよい。医師の裁量権とガイドラインの違いは考慮する必要があるが。

- 保健償還のために対象集団を絞らないことが理想的。予算が限られている場合で、狭めるべきデータがあれば適応を狭めることがあり、それは償還機関の決定であるが、患者にとってはトレードオフの関係にある。母集団を狭くして開始し、その後 RWD に基づいて広げることでもできる。RWD を広く能動的に受け入れることが重要。
- サブグループ解析を根拠として、バイオマーカーや重症度、一部の患者群での顕著な効果などを考慮した制限が行われることがある。
- サブグループ解析を根拠とした制限はある。ただしサブグループ解析は、統計的な有意差を出すパワーがないことがほとんどなので、それに頼りすぎるのは適切ではない。
- サブグループ解析で特定の患者への効果について追加的有用性がないと判断されると、ドイツでは承認内容の範囲で償還されるので範囲の制限ではなく、その価値が差し引かれた価格設定となることはある。
- 薬事承認されていても費用対効果が悪いサブグループを除いて保険償還対象にすることはある。一つの効能の中の子グループ間で費用対効果が異なる場合、weight を付けて製品価格自体を調整する場合(国)もある(償還対象には含める)。市販後にエビデンスを集積して、保険償還範囲を拡大した(薬事承認範囲に近づけた)ケースもある。
- 国によって対応方法は異なるが、ベネフィット・リスクバランスがサブグループによって大きく異なる場合は、薬事承認の範囲よりも保険償還の範囲が狭まることはある。

7. その他

- 承認の 7~8 年前に、初回使用時の価格の検討を開始する。価格設定の予測可能性次第で開発投資を決定する。開発初期の医薬品の価格設定に関する予測可能性が重要。そしてイノベーションを評価する制度であるかどうかが重要。
- プレミアム付与に関しては相対的プレミアム(標準価格に対する%の加算、それも幅がある)ではなく、絶対的プレミアム(固定額の加算)が重要。特定の疾患について 1 年あたりの絶対的なプレミアムを規定することは企業側に信頼性を提供することにつながる。
- 日本でも、早期の行政側との拘束力のない対話(試験デザインと価格設定、どのようなプレミアムが適用されるか)ができれば重要である。有料化であってもかまわない。ただし、患者にとっては早期アクセスが重要である、価格交渉に時間がかかるのは好ましくない。
- 日本のドラッグラグ、ドラッグロスの理由は?そもそも諸外国で導入されてから時間がたつと、当時の比較対象が古くなってしまう場合があり、その臨床試験データでは日本には受け入れられない場合がある。このような課題の解決に向けては、例えば、先に導入して RWD で補完・評価していくというのも一案。
- カナダのような承認と薬価の同時審査。患者へのアクセスを遅らせない限り、価格決定においてより多くの対話を導入することが必要であるが、患者への早期アクセスがカギである。

何を基準に対話すべきかの明確な基準が必要。より広い社会的影響に焦点をあてた早期の協議プロセス、その中には患者の声を取り込むことが重要。

- そもそも優れた医薬品を提供することの重要性は、社会的価値、イノベーションの価値、社会的便益、アンメット・メディカルニーズ、患者社会性の改善などがある、どの国にも支払い能力の限界があるが、新製品は評価される必要がある。疾患領域に焦点を当てた将来計画をたて、イノベーションがどこで起こるかを予測すべき。乳がんの **HER2** 受容体をターゲットとした治療薬が出る前は、効率性が低く副作用の多い広範ながん治療であったが、それがイノベーションによって標的治療とよりよい臨床効果が生まれた。強い臨床的価値が最も重要であり、それが評価されなければ開発は続かない。

インタビューにご協力いただきました、AstraZeneca, Bayer, Boehringer Ingelheim GmbH, GlaxoSmithKline, Novartis, Roche, Sanofi 各社のグローバルマーケットアクセス担当者の皆様に感謝申し上げます。

以上

国内有識者ヒアリング結果

■目的

医療政策・経済学等を専門とする国内の有識者に対してヒアリングを行い、現行の薬価制度における課題を整理した上で、医薬品等有する価値を適正に評価するための薬価制度の議論に活用することを目的とする。

■調査方法

調査期間：2024 年 10 月～2025 年 2 月

調査対象者（敬称略）：五十嵐中（東京大学薬学部）

國頭英夫（日本赤十字社医療センター化学療法科）

後藤励（慶応義塾大学大学院経営管理研究科）

菅原琢磨（法政大学経済学部）

中村洋（慶応義塾大学大学院経営管理研究科）

以上 5 名

■調査結果

調査対象者 5 名からのヒアリング内容について、以下の 4 点に分類し、次ページ以降のとおり、取りまとめを行った。

1. 現行制度で評価されていない項目
2. 新規モダリティや革新的医薬品の算定・原価計算方式
3. 費用対効果評価の位置づけ・課題
4. その他

1. 現行制度で評価されていない項目

- 有効性・安全性は薬価で、その他は費用対効果の建付けでもよいが、現在のように費用対効果で評価してもらえる範囲が狭いのであれば、薬価の加算のポイント制に介護の観点を入れてよいのではないか。
- 一旦役所が値付けして、市販後に間接比較等のデータで薬価を上げるのは現実的かもしれない。介護の観点で調査するには結構なリソースがかかるので品目は限定されてくるかもしれない。C2H とは別の機関が評価して薬価を上げてよいかもしれない。
- 社会的なインパクトをどう薬価に反映させるのかは課題。これまで有効性・安全性はやっているが、枠としては小さい%でも社会的なコスト削減につながるものに加算を留意してあげるべき。その際は、これまでの有効性・安全性とどう関連付けて、二重に加算を付すことはないようにはしないとイケない。
- 予防薬をどう薬価に反映させるのかも課題。重症化予防はやりやすいがどこまで対象に入れるのか。どのぐらい蓋然性、社会的なインパクトがあるかは大事。
- ISPOR のバリューフローもあるが、本人以外の負担（家族の介護の負担）軽減が一番大事だと思う。労働生産性は北欧だと人間は存在するだけで価値があるという考え方もあるので国によっては受け入れがたい面はあり、平均的な議論はしにくい気がする。
- 介護負担に次いで、「オプションバリュー」（将来的に売れる価値）、薬が出ることによって将来に延命の余地がある（その間に更に新薬が出る）、それが高まることを価値とみていいかもしれない。
- 労働生産性は EQ5D に含まれているので、二重に計算している場合があり注意が必要。オーファンや小児に下駄を履かせるのはわかるが、働いている人向けのものに下駄を履かせることになる。

2. 新規モダリティや革新的医薬品の算定・原価計算方式

- ある程度の新しさのものであれば現行制度で評価可能だが、画期的な新薬が出てきたときに、企業提案のような形があってもよいと思う。仮に企業提案できるシステムであれば、追試を課すべきである。
- 原価計算方式は無くすのは難しいが、なるべく少なくした方がいい。最近の品目でも開示率で加算が0%になってしまっていた。本来の例外的なものにのみ原価を適用すべき。昔は自分達で開発していたため開示できたと思うが、現在は色々なところから導入しているので原価が計算できない。
- 原価よりは価値で付けるのがよいと思うが、価値をどう測るかは課題。
- 費用対効果では比較対照を選定しているので、類似薬効の範囲の拡大には参考になる。比較薬をどうするかについてガイドライン等でわかりやすくするのはよいが、裁量の余地はあった方がいい。
- 企業の届け出制については、現時点では難しい。診療報酬本体の方も希望価格にしろという話になってしまう。
- 企業届出制をもしやるなら、再評価を厳しくしてそれこそ保険から外すぐらいでもよい。
- 企業届出制については、やるとしても上限と下限は必要。希少疾患などで比較対象がない場合などは、額を契約してしまった方がいい。総売上に対するキャップをかける方法になる（自動的な拡大再算定）。キャップは市場規模予測を基本とした交渉で、今の原価と比べて市場規模は臨床医などから妥当性が確認しやすいのではないか。その場合、費用対効果は二の次でよく、効果とバジェットで進めるのがよいと思う。
- 画期的なものを原価で計算するのは他国と比べると稀有な例だが、大規模装置産業（NTT 分割）のように費用逡減産業は、効率性・厚生（社会全体の利益）を最大化する観点から考えると原価計算方式はリーズナブル。一方で、医薬品はどう評価したらいいかわからないからやっているという認識。現代の医薬品開発は1社で完結しないので原価を把握するのは難しい。
- 現実的には、①他の国の価格をベースにする、②既存療法の範囲を広げる、③メーカーの希望価格＋専門家の評価で裁量を与えて後で評価するといった方法があると思う。価値を考えると経済学者的にはマーケットになるので載せてみるという方法になる。その場合、欧州を例にするとHTAをして医師や保険者との交渉（ただし内容は秘密主義）、既存薬のところまでは償還する、残りは選定療養みたいなやり方はあるかもしれない。
- 原価は不透明性がある。原価計算も会計的に2種類ある。開発に失敗している分も入っているかはわかりづらい面がある。ボラティリティが高い時の輸入原価をどう考えるのか、年数が経つにつれてどれだけ原価が低減しているかなどはブラックボックス

になっている。

- 最初の値決めについては特によい案はないが、後から費用対効果で下げるのはありだと思う。診療報酬本体の話になってしまうが、CT の撮影価格も徐々に下がっている。本体の方が精査されずに価格設定されている気はする。
- 長期の予後のデータが大事。再発して高い薬を使うなら意味がない。全部トライアルに入れて長期のデータが出た段階で再評価すべき。米国と違って日本は取り消ししない文化だが、再評価の仕組みは必要。期待以上なら薬価を上げるのはよいのではないか。
- 4 億円の薬が出ると聞いたが、小児対象で 1 回限りの投与ならコスパが悪いとは思わない。70 や 80 歳の方に抗がん剤を使うことを考えれば安い。
- バジェットを考える際は、名目 GDP の分は伸びてもいいのではないか（経済成長分は伸びてもいいという理論）。正しい原価は存在せず、あくまで交渉材料である。また、原価は生産者の論理、価値は消費者側の論理で、本来製薬企業が両方主張するのは変な話。
- 価格決めは難しい。最初の価格は企業独占なので、経済学上正しい価格はない。透明性を高めてやっていて、実勢価格で改定する現行の制度は、それなりに合理的と思う。また、都度問題になっていることに対応して制度を微調整するのも合理的と思う。
- 行政のコストを考えないなら、現行の透明性があり順番にルールを当てはめる考えは合理的。上市の段階で効果の不確実性がある場合には国・支払側がリスクを取りすぎている場合もあるので、市販後に見直しをしてもよいかもしれない。
- 外国価格はリストプライスと比較しているが、実勢価格との比較とはなっていない。新たなエビデンス（費用対効果でもよい）で市販後に見直しすることが必要。
- 最初からターゲットがわかっていてデータのあるものは価値が高く値段を上げてよいが、そうでないものは低くてよい。チェックポイント阻害薬は、当初よりは、ある程度対象が絞れてきて誰に効くのかわかってきたので相対的に価値が上がったと思う。

3. 費用対効果評価の位置づけ・課題

- 原価計算はそれだけ見ると腑に落ちるし、理にかなっているように見える。ただ、手間がかかっているから高くするというのは需要側の理屈。本来は価値に応じて値段はつくべき。価値に根ざした薬価という言葉が一人歩きしている。それがいつの間にかイコール日本の費用対効果になっている。理想的な意味の費用対効果なら価値の評価につながるが、現行はそうはなっていない。
- 諸外国が価格調整に使ってないのは、費用対効果の不確実性は大きく、一意に定まらないから。一見お金の単位で出てくるので、よく見えるが、科学的なものではない。
- ヨーク大学でよく言われているが、あくまで Best Available で Best of best ではない。QALY だけの議論にならないようアプレイザルすべきと話していたのに、現行は QALY で判断することにすり替わっている。QOL はどのような質問票であれ、網羅はできない。概念自体の漏れと質問票自体の漏れがでてくる。QOL で評価できるのは半分ぐらい。
- 費用対効果で適用要件を絞り込むみたいな話はよいと思う。薬価は高くしても適切な患者に対して使うという話は合理的。
- 費用対効果というだけで政治が反応してもっと入れたらどうかという話はあるが、日本は薬価算定+ICER でやっているので十分に既に取り入れている。
- 費用増加については、ガイドラインで絞る。ドミナントの場合は既存薬の方を使わないようにするなどはやるべき。最適使用推進ガイドラインがないものは、学会のガイドラインや承認条件の変更もありうるのではないかな。
- 医療機器の費用対効果は 95%の患者は前のままでいいが、5%の患者には効く場合に、費用対効果は悪いと判断されてしまう。そういう場合は、絞って費用対効果がよい部分だけ上げるのもよいかもしれない。
- 費用対効果の制度は補正の位置づけで、これらを経て結果的にいろいろな人の目が入っている所以制度全体として問題ない。最適な価格はないので、費用対効果で示された価格（ICER の閾値）みたいなものがベンチマークになる。
- いろいろな人の声を聞いて透明に決めるのは日本的でよいと思う。アメリカで ICER という組織も日本と似たようなことをしていて、回り回って日本的な制度に落ち着いてきている気がする。
- 日本の制度では ICER を一つに決めるのが難しい。本来、不確実性によって幅がある部分を考慮しきれていない。（間接的に厚労省が管轄できる）協会けんぽのようところが不確実性を考慮して交渉するのがいいかもしれないが、保険者側に人材はそれほど多くない。
- 費用対効果評価が悪い人について、現場でそれに基づき判断するのは難しい。国が保険の範囲を狭くするか、フォーミュラに盛り込んだ方がよい。薬事の範囲と多少ズレが

あっても仕方がない。再生医療は特にそういう面がある。

- 費用対効果評価は、臨床試験の効果と乖離するものがあり、承認範囲と臨床試験の範囲のズレなどで評価できない（されない）場合がある。
- 費用対効果評価は趣味みたいな話である。評価結果を診療ガイドラインに入れようという話もあるが、とてもではないが全部はできない。同じ作用機序、同じ効果・安全性なら価格の安い方を使えというのをガイドラインに入れるはいいと思う。最初の承認の適応をとった癌腫によって価格が異なっている場合がある。
- コスパで測るのはいいが、ICER に使用する QOL は良い指標ではない。80 歳の人と 20 歳の人の QOL が同じになるのはおかしい。

4. その他

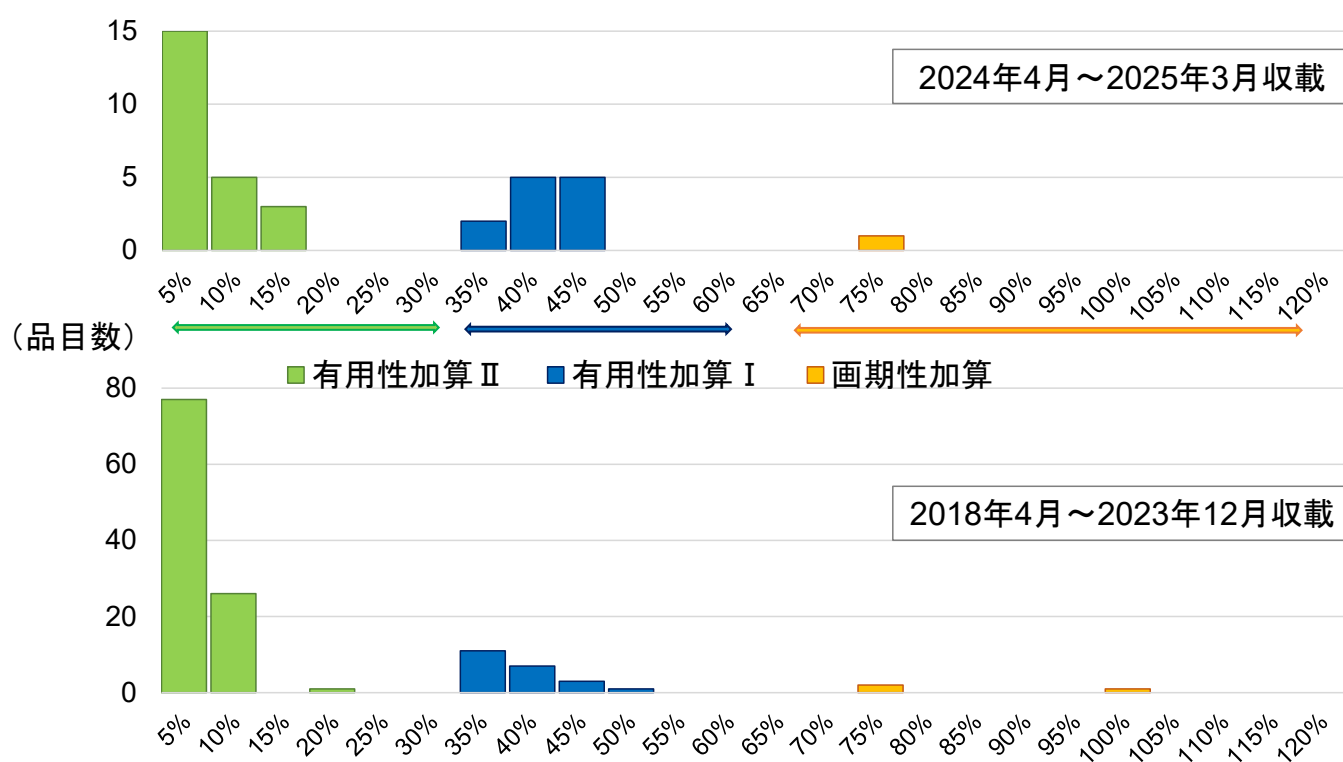
- [薬価と数量と期間]－[コスト]の計算式になる。コストは治験のコストを下げたことや、最先端の遺伝子治療は工場の支援なども含めた支援、AIでの解析の支援など、薬価以外の総合的なサポートも重要。
- 1950-60年代の抗生剤には制限診療があったが、70年代ぐらいから自由になった。臨床だと新しい薬の方がいいと考えがちだが、ガイドラインで制限してもよいかもしれない。
- 患者が適切な医療機関に行けていないので、患者のパスウェイを整備してもいいかもしれない。
- 適応拡大の場合、別ブランドの価格付けができると良いと思う。投与量が違って製剤が分けられる場合はいいかもしれない。
- 適応によってコスパは違う。別の価格がつけられるといいが、適応が正しいか確認するのはすごく手間がかかる。
- 治療効果の評価はこれまでしているが、診断の部分をもっとやるべきと思う（投与対象の精緻化をすべき）。
- 臨床の現場でどう使わせるかの方が大事。処方動向を把握している保険者がもう少し介入できるといいが、調査権がない。地域のフォーミュラリにももう少し強制力を持たせた方がいい。
- 再生医療の民間保険は実際のところ商品として難しい。現金給付で稼いでいるので現物給付に手を出さないと思う。
- 日本でしか売れなさそうな新薬のインセンティブはもう少し無くした方がいいかもしれない。
- 日本は承認を取り消さないが、承認取り消しが難しければ価格を下げるか、自己負担割合を上げる（高額療養費の対象から外す）のはあるのではないか。治療している医師は全く薬価を意識していない。高額療養費でどうせ患者負担は同じになってしまう。高額療養費は現役世代の負担増になるのがよくない。年金生活の高齢者の低負担を中間層が負担してしまっている。
- 抗生物質がないのは流石にまずいので、基礎的な薬は採算が取れる薬価にすべき。
- 米国で一時期抗がん剤が不足した。抗がん剤（1万3千円）+チェックポイント阻害剤（60万円）の組み合わせなので、抗がん剤の方の供給の企業インセンティブがなく、製造がインドなどにいっている。インドへのFDA査察により一気に指摘を受けて供給が不安定になった。
- 単剤を併用していたものを配合剤・皮下注にしたものが新薬になるのも本来は変な話。
- 日本は承認されたら全て償還される。米国FDAでは使う方まで責任を負っていない。保険償還まで含むという意味も考えると、緩いFDA承認と日本の承認の基準が同じなのは違う。日本は保険償還まで含むのもっと承認を厳しくしてもよいと思う。または、

ドラッグ・ロス解消したいなら全て承認をしまって保険は別の話にすればよい。

- 売れているから下げるのは、好意的に見ればいい薬ということ。市場拡大再算定は科学的ではない。企業の言い分はもっともな気がする。

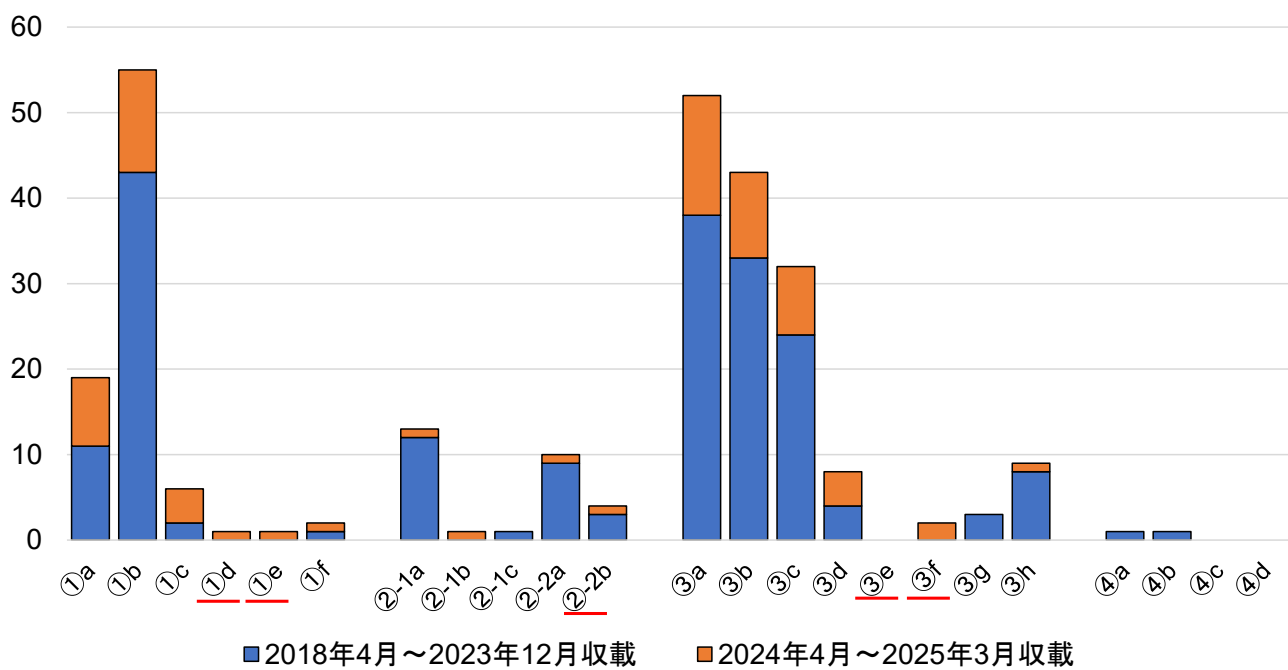
最近の新薬薬価算定の状況 (有用性系加算などの適用、原価の開示度)

有用性系加算率の適用状況



有用性系加算ポイントの適用状況

(品目数)



① 臨床上有用な新規の作用機序	
a	薬理作用発現のための薬剤の作用点(部位)が既収載品目と大きく異なる
b	薬理作用発現のための薬剤の標的分子(酵素、受容体など)が既収載品目と異なる
c	a又はbを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする
d	a又はbを満たす場合であって、創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上的有用性が示される
e	a又はbを満たす場合であって、同じ疾患領域において新規の作用機序の新薬が長期間収載されていない
f	a又はbを満たす場合であって、示された新規の作用機序が臨床上市特に著しく有用であると薬価算定組織が認める

② 類似薬等に比した高い有効性又は安全性	
②-1 高い有効性又は安全性の内容	
a	臨床上市重要な有効性指標において類似薬に比した高い有効性が示される
b	重篤な副作用の発現状況など、臨床上市重要な安全性指標において類似薬に比した高い安全性が示される
c	a又はbを満たす場合であって、高い有効性／安全性が臨床上市特に著しく有用であると薬価算定組織が認める
②-2 高い有効性又は安全性の示し方	
a	ランダム化比較臨床試験による
b	その他、患者数が少ない等の理由で比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬であって、単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認めるなど、客観性及び信頼性が確保された方法による

③ 対象疾病の治療方法の改善	
a	既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる
b	対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる
c	既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い(除:製剤工夫)
d	既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される
e	作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される
f	患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比した改善が示される
g	上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める
h	a～gのいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする

市場性加算（Ⅰ）の適用状況

	加算率10%	15%	20%
2018年4月～ 2023年11月収載	48	0	0
2024年4月～ 2025年3月収載	14	3	0

- 患者数が極めて少なく開発が難しいと想定される中で、欧米に遅れることなく開発・承認されたこと等を踏まえ、加算率は15%が妥当である。
- ……、本剤開発時の国際共同治験に日本人患者が組み入れられていたことを踏まえ、加算率15%が妥当である。

◆ ……ただし、本邦における承認が欧米の承認から一定の期間が経過していることを踏まえ、限定的な評価とし、10%とすることが適当と判断した。

小児加算の適用状況

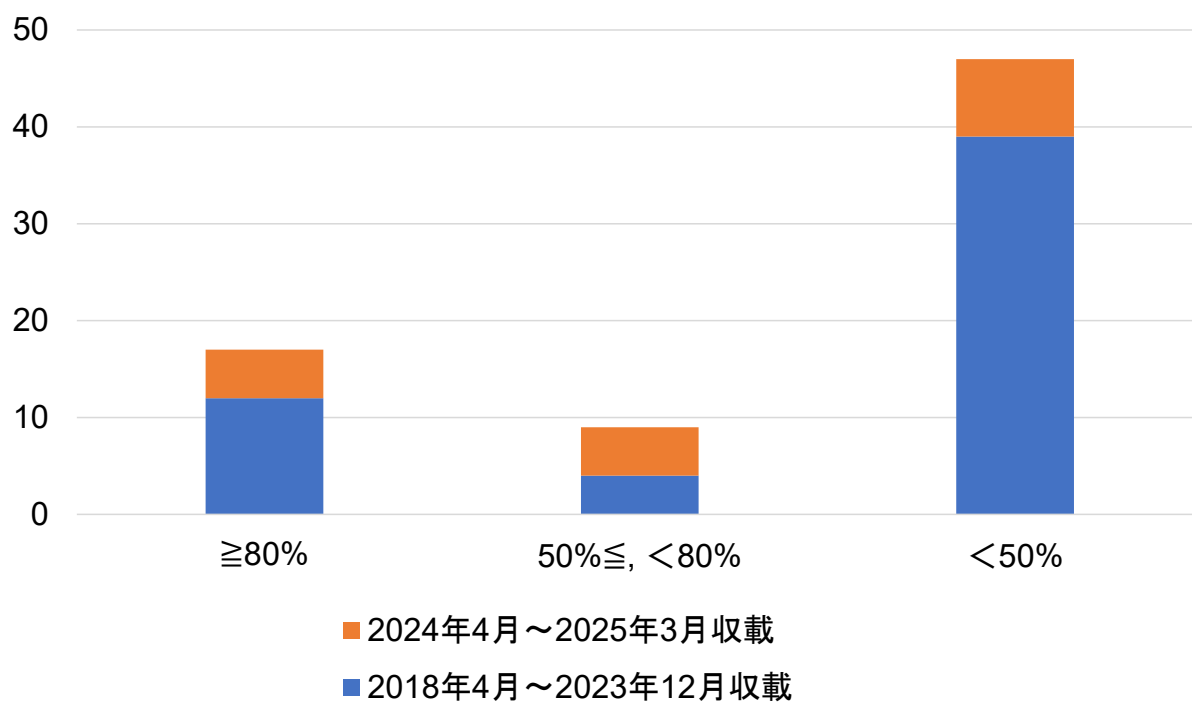
	加算率5%	10%	15%	20%
2018年4月～ 2023年11月収載	23	3	0	0
2024年4月～ 2025年3月収載	4	5	4	2

- 日本人の試験組み入れ数、優先審査の該当性、海外よりも早い承認状況等を踏まえ、加算率は20%が妥当である
- 本邦における承認は欧州と比べて大きく遅れていないこと等を踏まえ、加算率は15%が妥当である。

◆ 臨床試験における日本人小児被験者数を踏まえると、限定的な評価とすべきである一方、幼少期から心血管リスクが高く早期の治療介入が必要とされるものの、低年齢の小児患者に対して適応を有する既承認薬が存在しなかった疾患に対して、本剤は5歳以上の小児患者を対象として承認されたことを踏まえると、加算率は10%が妥当である。

原価の開示度

(品目数)



新薬の薬価算定における類似薬効比較方式の適用状況に関する調査

1. 目的

近年、薬価基準に収載された新薬を対象として、類似薬効比較方式による算定品目における類似薬の選定状況について整理・分析し、今後の新薬の薬価算定の運用改善に向けて考察した。

2. 方法

2018 年 4 月から 2025 年 3 月までに薬価基準に収載された新薬 383 品目（有効成分）を研究対象とした。これらの品目について、厚生労働省のウェブサイト (https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128154.html) から入手した中央社会保険医療協議会総会における薬価算定に関する資料に基づき、販売名、成分名、薬価算定方式、最類似薬の有無、新薬（及び最類似薬）の効能・効果、薬理作用、組成・化学構造、投与形態等の情報を収集した。次いで、類似薬効比較方式（Ⅰ）によって薬価が算定された品目について、新薬及び最類似薬の特性（効能・効果、薬理作用、組成・化学構造、投与形態）の情報を表 1 に示すように分類・整理し、新薬と最類似薬とで、イ．効能・効果が「異なる」と分類された品目及びハ．組成・化学構造が「異なる」と分類された品目について詳細を調査した。

表 1 類似薬効比較方式（Ⅰ）による算定品目における新薬及び最類似薬の特性の分類法

イ．効能・効果

①同じ、②新薬と最類似薬の効能・効果が一部重複する、③異なる

ロ．薬理作用

①同じ、②新薬と最類似薬の薬理作用が一部重複する、③異なる

ハ．組成・化学構造

①新薬、最類似薬ともに化学合成品又は高分子医薬品である、②異なる

ニ．投与形態

①新薬と最類似薬の投与経路（内用、注射、外用）が同じ、②異なる

3. 結果

研究対象とした新薬 383 品目に係る薬価算定方式の内訳は、類似薬効比較方式（Ⅰ）230 品目（60.0%）、類似薬効比較方式（Ⅱ）21 品目（5.5%）、原価計算方式 98 品目（25.6%）、その他（配合剤や規格間調整など）34 品目（8.9%）であった。

類似薬効比較方式（Ⅰ）で算定された 230 品目について、新薬及び最類似薬の特性（効

能・効果、薬理作用、組成・化学構造、投与形態）を分類した結果を表2に示す。

表2 類似薬効比較方式（Ⅰ）による算定品目における新薬及び最類似薬の特性の分類

特性の分類	該当品目数
新薬と最類似薬でイ、ロ、ハ、ニの全ての項目が同じ	38
新薬と最類似薬でイ、ロ、ハ、ニのいずれか1つ以上の項目が異なる	192
イ．効能・効果	
① 同じ	91
② 新薬と最類似薬の効能・効果が一部重複する	120
③ 異なる	19
ロ．薬理作用	
① 同じ	137
② 新薬と最類似薬の薬理作用が一部重複する	31
③ 異なる	62
ハ．組成・化学構造	
① 新薬、最類似薬ともに化学合成品又は高分子医薬品である	222
② 異なる	8
ニ．投与形態	
① 新薬と最類似薬の投与経路（内用、注射、外用）が同じ	202
② 異なる	28

これらのうち、新薬と最類似薬でイ．効能・効果が「異なる」と分類された19品目について詳細を確認した結果、うち7品目は新薬と最類似薬の有効成分が同一（配合剤で有効成分が重複するものを含む）であった。これらを除く12品目についての詳細を表3に示した。

新薬と効能・効果が異なる医薬品が最類似薬に選定された場合であっても、両者の効能・効果は同じ疾患群に属する、症状が重複するといった一定の共通性が認められた。また、全ての品目において新薬と最類似薬でハ．組成・化学構造は共通であり、各々2品目を除いてロ．薬理作用、ニ．投与形態が同じであった。

表 3 効能・効果が異なる医薬品が最類似薬に選定された品目

	新薬の有効成分及び [効能・効果]	最類似薬の有効成分及び [効能・効果]	薬理 作用	組成 化学 構造	投与 形態
1	ネシツムマブ（遺伝子組換え） [切除不能な進行・再発の扁平上皮 非小細胞肺癌]	パニツムマブ（遺伝子組換え） [KRAS 遺伝子野生型の治癒切除不 能な進行・再発の結腸・直腸癌]	同じ	共通	同じ
2	ジルコニウムシクロケイ酸ナトリウ ム水和物 [高カリウム血症]	クエン酸第二鉄水和物 [慢性腎臓病患者における高リン血症 の改善]	異な る	共通	同じ
3	インダカテロール酢酸塩／グリコピ ロニウム臭化物／モメタゾンフラン カルボン酸エステル [気管支喘息（LABA/LAMA/ISC の 併用が必要な場合）]	ビランテロールトリフェニル酢酸塩／ ウメクリジニウム臭化物／フルチカゾ ンフランカルボン酸エステル [慢性閉塞性肺疾患（LABA/LAMA/ ICS の併用が必要な場合）]	同じ	共通	同じ
4	エンホルツマブ ベドチン（遺伝子組 換え） [がん化学療法後に増悪した根治切 除不能な尿路上皮癌]	トラスツズマブ エムタンシン（遺伝 子組換え） [HER2 陽性の手術不能又は再発乳 癌、HER2 陽性の乳癌における術後 薬物療法]	異な る	共通 *a	同じ
5	ガニレリクス酢酸塩 [調節卵巣刺激下における早発排卵 の防止]	レルゴリクス [子宮筋腫に基づく諸症状の改善（過 多月経、下腹痛、腰痛、貧血）、子宮 内膜症に基づく疼痛の改善]	同じ	共通	異な る
6	セトロレリクス酢酸塩 [調節卵巣刺激下における早発排卵 の防止]	レルゴリクス [子宮筋腫に基づく諸症状の改善（過 多月経、下腹痛、腰痛、貧血）、子宮 内膜症に基づく疼痛の改善]	同じ	共通	異な る
7	バルベナジントシル酸塩 [遅発性ジスキネジア]	テトラベナジン [ハンチントン病に伴う舞踏運動]	同じ	共通	同じ
8	セルメチニブ硫酸塩 [神経線維腫症 1 型における 叢状神経線維腫]	ビニメチニブ [BRAF 遺伝子変異を有する根治切 除不能な悪性黒色腫]	同じ	共通	同じ

LABA：長時間作用型 $\beta 2$ 刺激薬、LAMA：長時間作用型抗コリン薬、ISC：吸入ステロイド

*a 抗体薬物複合体

	新薬の有効成分及び [効能・効果]	最類似薬の有効成分及び [効能・効果]	薬理 作用	組成 化学 構造	投与 形態
9	ミリキズマブ（遺伝子組換え）*1 [中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛 解導入療法（既存治療で効果不十分な 場合）]	リサンキズマブ（遺伝子組換え）*1 [中等症から重症の活動期クローン 病の寛解導入療法（既存治療で効果 不十分な場合）]	同じ	共通	同じ
10	ミリキズマブ（遺伝子組換え）*2 [中等症から重症の潰瘍性大腸炎の維 持療法（既存治療で効果不十分な場 合）]	リサンキズマブ（遺伝子組換え）*2 [中等症から重症の活動期クローン 病の維持療法（既存治療で効果不十 分な場合）]	同じ	共通	同じ
11	乾燥ヘモフィルス b 型ワクチン（破傷 風トキソイド結合体） [インフルエンザ菌 b 型による感染症 の予防]	肺炎球菌ワクチン [2 歳以上で肺炎球菌による重篤疾 患に罹患する危険が高い個人及び患 者（脾摘患者における肺炎球菌によ る感染症の発症予防、肺炎球菌によ る感染症の予防（以下略）]	同じ	共通	同じ
12	エルラナタマブ（遺伝子組換え） [再発又は難治性の多発性骨髄腫（標 準的な治療が困難な場合）]	エプコリタマブ（遺伝子組換え） [再発又は難治性の大細胞型 B 細胞 リンパ腫（びまん性大細胞型 B 細胞 リンパ腫、高悪性度 B 細胞リンパ 腫、原発性縦隔大細胞型 B 細胞リン パ腫）、再発又は難治性の濾胞性リ ンパ腫]	同じ	共通 *b	同じ

*1 点滴静製剤、*2 皮下注製剤

*b 二重特異性抗体

次いで、新薬と最類似薬でハ、組成・化学構造が「異なる」と分類された 8 品目についての詳細を表 4 に示した。組成・化学構造の違いに起因して薬理作用及び投与形態は異なる場合が多かったものの、効能・効果は同じであるか又は一部重複するものであった。

表 4 組成・化学構造が異なる医薬品が最類似薬に選定された品目

	新薬の有効成分	最類似薬の有効成分	効能 効果	薬理 作用	投与 形態
1	イカチバント酢酸塩	乾燥濃縮人 C1-インアクチベーター	同じ	異なる	同じ
2	ロキサデュスタット	ダルベポエチン アルファ（遺伝子組換え）	一部重複	異なる	異なる
3	ラナデルマブ（遺伝子組換え）	ベロトラルスタット	同じ	同じ	異なる
4	ペグバリアーゼ（遺伝子組換え）	サブプロテリン塩酸塩	一部重複	異なる	異なる
5	ペグセタコبران	エクリズマブ（遺伝子組換え）	一部重複	異なる	同じ
6	インクリシラン ナトリウム	エボロクマブ（遺伝子組換え）	同じ	異なる	同じ
7	ジルコبران ナトリウム	エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）	同じ	異なる	同じ
8	エビナクマブ（遺伝子組換え）	ロミタピドメシル酸塩	同じ	異なる	異なる

4. 考察

本研究では、近年薬価基準に収載された新薬を対象に、類似薬効比較方式（Ⅰ）による算定品目における最類似薬の特性や選定範囲について整理・分析した。その結果、類似薬効比較方式（Ⅰ）で薬価が算定された新薬のうち、新薬と最類似薬で効能・効果、薬理作用、組成・化学構造、投与形態の全ての項目が同じであったものは2割弱の品目にとどまり、多くの品目において、これらの項目の一部に違いがあっても最類似薬として選定されていることが確認できた。これらの中でも、新薬と最類似薬で効能・効果が異なったケースに着目したところ、両者間で効能・効果が異なる場合であっても、同じ疾患群に属する、症状が重複するといった一定の共通性が認められ、さらに、その際には薬理作用、組成・化学構造、投与形態には類似性があった。また、新薬と最類似薬で組成・化学構造が異なったケースに着目したところ、組成・化学構造の違いに起因して両者間で薬理作用及び投与形態は異なる場合が多かったものの、効能・効果は同じ又は少なくとも一部が重複するものであった。これらの情報は、今後、効能・効果又は組成・化学構造が同一の既存薬がない場合であっても、類似薬の範囲や考え方を一定程度拡大して比較薬（最類似薬）の候補となるべき既存薬を拾い上げ、類似薬効比較方式の適用のための検討の俎上に載せるプロセスにおいて有益な情報になると考えられる。

近年、原価計算方式により算定された品目において価格の内訳の開示度が低いものが多く存在することに対する指摘がなされている。開示度向上への取り組みは必要である一方、開発や製造のグローバル化により医薬品の製造は複数国にまたがり、多くの委託先を経て製品化される場合が多く、経費などの詳細を明らかにするには限界がある。このため、薬価算定の透明性・納得性を高めるという観点から、類似薬の対象を拡大する具体的な仕組みについて検討していくことが重要である。

研究成果の刊行に関する一覧表

書籍 該当なし

雑誌 該当なし

厚生労働大臣 殿

機関名 学校法人北里研究所 北里大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 砂塚 敏明

次の職員の令和6年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 厚生労働行政推進調査事業費補助金（地域医療基盤開発推進研究事業）
2. 研究課題名 医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する薬価上の評価指数の開発に資する研究（24IA2014）
3. 研究者名 （所属部署・職名） 薬学部・教授
（氏名・フリガナ） 成川 衛・ ナルカワ マモル

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称： ）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由： ）
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合は委託先機関： ）
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由： ）
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> （有の場合はその内容： ）

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣
(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
(国立保健医療科学院長)

機関名 城西国際大学
所属研究機関長 職 名 学長
氏 名 倉 林 眞 砂 斗

次の職員の(元号) 年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 地域医療基盤開発推進研究事業
2. 研究課題名 医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する薬価上の評価指標の開発に資する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 薬学部医療薬学科 教授
(氏名・フリガナ) 小林 江梨子 (コバヤシ エリコ)

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
		審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2025年 2月 28日

厚生労働大臣 殿

機関名 国際医療福祉大学
所属研究機関長 職 名 学長
氏 名 鈴木 康裕

次の職員の令和6年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 地域医療基盤開発推進研究事業
2. 研究課題名 医療上の必要性が高い革新的医薬品に対する薬価上の評価指標の開発に資する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 成田薬学部薬学科 准教授
(氏名・フリガナ) 間宮 弘晃 (マミヤ ヒロアキ)

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
		審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/> 有 <input checked="" type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。