

令和6年度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

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。

- 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。
- 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。
- 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。
- 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。
- 提案価格の設定に先立って保険者へのインバウンドを実施する場合、その結果をどのように利用するか。
- 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。

- 現行制度では評価が困難な医薬品等の価値
- 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
- 費用対効果評価の位置づけや課題
- 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際には、（効能が異なっていても）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が多い。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つてもよい。

(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対象疾患の治療方法の改善-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 [対象疾患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、最近改善されていているように見えるが、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