

# 革新的新薬の適正評価に見るこれからの薬価制度の方向性と医療政策の将来展望



横内 瑛



高藤直子

## CONTENTS

- I はじめに
- II 日本の薬価基準制度と抜本改革
- III 最新の医薬品開発動向と現行の薬価制度の課題
- IV 新薬にかかわる薬価評価の将来展望

### 要約

- 1 半世紀ほど前の1961年に国民皆保険制度が成立して以来、わが国ではすべての国民が低コストで高品質の医療を受けることが可能となった。世界的に見ても、ここまで医療へのフリーアクセスを許容している国・地域は珍しい。
- 2 昨今は、医学・創薬技術の進展に伴い、これまでは完全寛解できなかった疾病の治療薬や、既存薬よりも効能の高い医薬品などが登場し、革新的医薬品の高額化が相次いでいる。社会保障財政に鑑みれば、少子高齢化の進展も踏まえて、国民皆保険制度を持続可能にする方法について、真剣に議論する時期を迎えている。
- 3 わが国には、薬価を算定するベースとなるプロセスとして、原価計算方式と類似薬効比較方式の2方式が存在し、このほかに効能・効果、諸外国での平均価格などを加味する多様な補正加算、調整方法が存在する。しかし、オプジーボやソバルディのような革新的新薬は、先進的すぎるが故に、現行制度では諸条件や事情・背景などを踏まえながら技術を適正、かつ公平に評価できているとは言い難い。薬剤の多面的価値を評価可能な、新たな評価手法の導入が求められている。
- 4 革新的新薬としての適切なプライシングが実現しない場合、わが国の医療環境は、医薬品市場の魅力低下、グローバル・ローンチ戦略の劣後によるドラッグ・ラグの再燃、患者自己負担や保険償還範囲の見直しなど、その見通しは明るくない。医薬品産業としても、最適使用ガイドラインの拡充、リアルワールドデータなどを活用した自社製品の革新性の訴求に向けた取り組み、プロモーションの生産性向上施策をより積極的に展開していく必要がある。

## I はじめに

わが国の医療保険制度は、1922（大正11）年に施行された企業雇用者を対象とした職域健康保険を土台とし、1961（昭和36）年に、すべての国民が一定の自己負担で必要な医療を受けられる国民皆保険体制が確立した。いずれの医療機関でも、全国一律の費用で国が認めた質の高い医療を享受することができ、患者が医療機関を選択できるフリーアクセスを保障しているなど、世界的に見ても医療アクセサビリティの高い制度である。

この恵まれた医療環境を維持するためには盤石な社会保障財源が必要であるが、日本経済の成熟化、超少子高齢化などの社会情勢を踏まえると、将来にわたり現行制度が提供できるか否かの大きな問題に直面している。

医療保険制度には、診療報酬、調剤報酬、薬価基準制度の3つの柱があり、医療技術や医療従事者の役割変化、国民医療費へのインパクトなどに応じて見直しがされている。わが国では、逼迫する社会保障財政と医療産業のイノベーション評価というトレードオフの関係にある2点をバランスさせる必要がある。しかし、社会保障の持続可能性が重視されやすい昨今の社会情勢に鑑みれば、イノベーションに対する高い評価を手放しで与えることは難しい。このように、医薬品産業において革新的新薬の適正な評価がなされなければ、日本の薬価を外国価格として参照する国・地域への影響などを考慮され、日本のプレゼンス、ひいては競争力が今よりも低下することが危惧される。本稿では、薬価基準制度に焦点を当てて、財政問題を背景とする制度の変遷と課題を明らかにした上で、日本の

医療・医薬品産業のイノベーション評価の方向性と、薬価評価を起点とした医療政策の将来展望を論じる。

## II 日本の薬価基準制度と抜本改革

### 1 日本の薬価基準制度の変遷

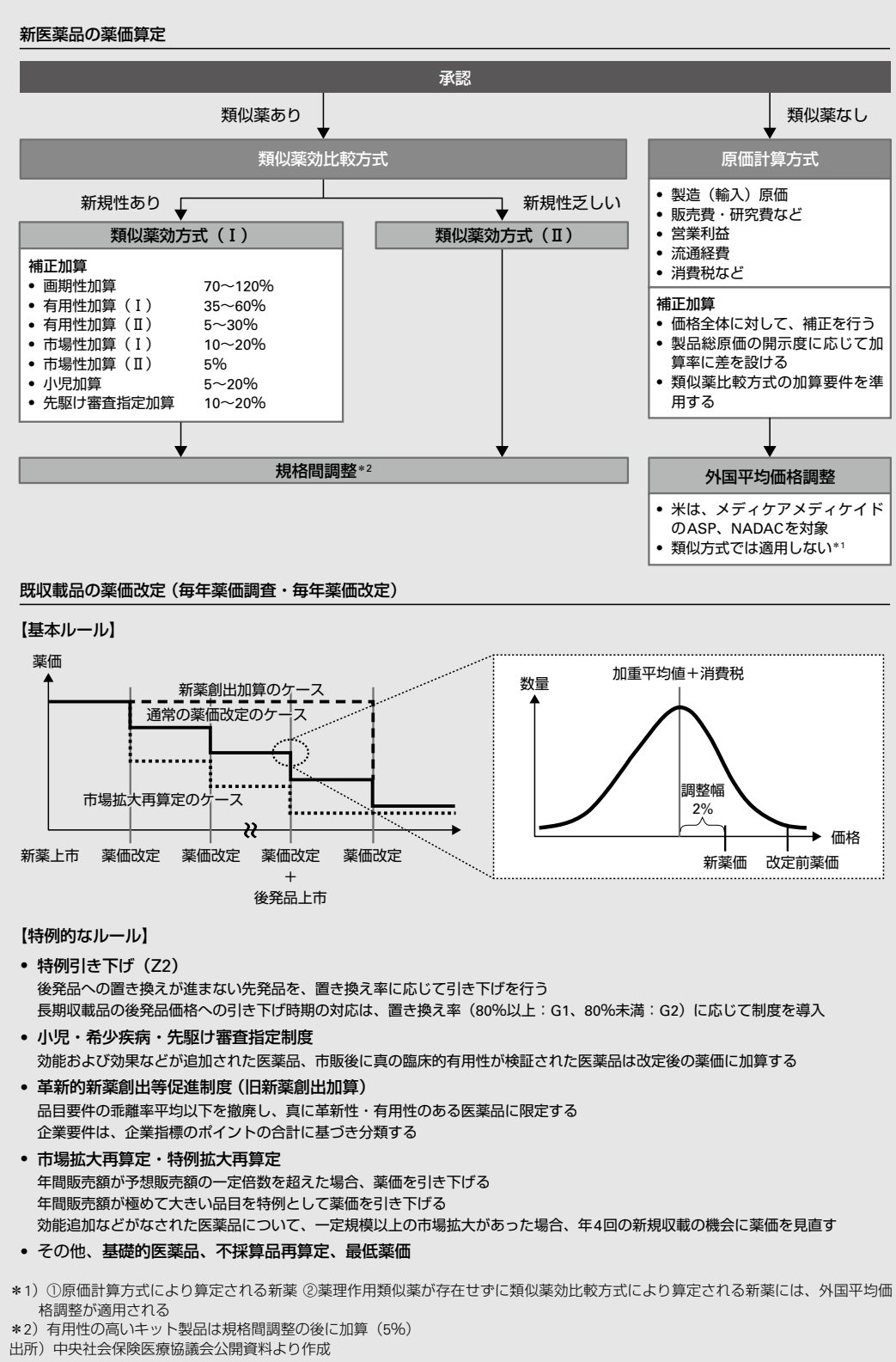
日本の薬価基準制度（以降、薬価制度）は1950（昭和25）年に策定された。戦後の物価混乱を受け医薬品は統制価格であったが、その廃止に伴い薬価基準（公定価格）の設定が必要となり、実勢取引価格の累積分布の90%点を薬価基準とするバルクライン方式<sup>注1</sup>が採用された。

1980年代後半になり、医療機関の実勢取引価格と、患者に請求する薬価基準価格（公定価格）の薬価差益が医療機関の収入源になっていることが問題視され、薬価差の縮小と取引価格のバラツキの是正に向けた見直しが行われることとなった。

既収載医薬品の薬価算定方式は、1991（平成3）年5月31日の中央社会保険医療協議会<sup>注2</sup>（以降、中医協）の建議書に基づき、バルクライン方式から加重平均値一定価格方式への改定が示され、1992（平成4）年の薬価基準の全面改定（以降、薬価改定）から適用された。さらに、2000（平成12）年の薬価改定で現行の市場実勢価格加重平均値調整幅方式に移行し、現在に至る。

その後、既収載医薬品の薬価は、医療保険制度の維持と医薬品産業のイノベーション評価をめぐって、特例的なルールの追加により引き下げや加算で調整されてきた。2000（平成12）年には、「市場拡大再算定」が設けられ、年間販売額が予想販売額の一定倍数を超

図1 日本の薬価制度（2018（平成30）年度）



えた場合に、薬価を引き下げられることとなった。2010（平成22）年度の薬価改定で試行的に導入された「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」（以降、新薬創出等加算）<sup>23</sup>は、一定の条件を満たす特許期間中の新薬の薬価を維持する仕組みで、革新的新薬の創出や未承認薬・適応外薬<sup>24</sup>の開発を促進することを目的に設定された。その後、薬剤費の高騰が問題視されると、2016（平成28）年に「市場拡大再算定」に特例<sup>25</sup>を設け、年間販売額が極めて大きい品目について大幅に薬価を引き下げるルールが適用された。

新医薬品に関しては、1982（昭和57）年の中医協答申で基本的な考え方が定められ、「新医薬品の薬価算定に関する懇談会報告」に基づき適正に行うものとされた。算定方式は類似薬の有無により分かれ、既収載品に類似薬がある場合は①類似薬効比較方式、類似薬がない場合は②原価計算方式が適用される。その後、1990（平成2）年に薬価専門部会が設置され、新薬の薬価算定を含む薬価問題全般について審議が行われるようになった。

新薬の評価は、1991（平成3）年の中医協建議において、真に画期的な新薬に限り算定される画期性加算が新たに設けられ、画期性加算<sup>26</sup>、有用性加算および市場性加算の3種に区分し、それぞれの対象となる新薬の要件の明確化が図られた（図1）。

## 2 薬価制度の抜本改革の背景と 医薬品産業への影響

2017（平成29）年12月、「薬価制度の抜本改革」が中医協により了承された。その内容は、日本の医薬品産業に極めて大きなインパクトを与えることとなった。

薬価制度改革が進められた発端は、2016（平成28）年4月に財務省の審議会で、小野薬品工業の抗がん剤「オブジーボ」の効能追加や、ギリアド・サイエンシズの慢性C型肝炎治療薬「ソバルディ」「ハーボニー」といった高額薬剤の保険収載により、薬剤費高騰による医療保険財政の破綻に対する懸念が高まったことにある。

「オブジーボ」は、2014（平成26）年に悪性黒色腫（皮膚がんの一種）の治療薬として保険収載された。対象患者が470人程度と少ないこともあり、採算が取れるように1瓶（100mg）約73万円と高めに設定され、予想販売額も年間31億円程度であった。しかし、2015（平成27）年に非小細胞肺癌への効能追加が承認されたことにより、対象患者数が1万1500人程度となり、年間販売額が1500億円と約50倍に急増する見込みとなった。

「ソバルディ」は、革新的なC型肝炎治療薬として2015（平成27）年に保険収載された。副作用が強く、治療効果も低い既存の治療法に対し、副作用も軽い経口剤で高い治療効果があるという点で、画期性加算100%と高い評価を受け、薬価が1錠約6万円という高額薬剤となった。

急速に沸騰した高額薬剤問題への対応は、「オブジーボ」1品目に対して薬価の50%引き下げ<sup>27</sup>という緊急薬価改定が実施されるとともに、2016（平成28）年度薬価改定で「特例市場拡大再算定」が新設され、「ソバルディ」を含む4品目が薬価引き下げの対象となった。

これらの状況を受け、2016（平成28）年12月に「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」を両立し、「国民負担の軽減」と

「医療の質の向上」を実現することを目的に、「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」が打ち出されることとなった。改革の柱の中で、製薬企業の経営に大きな影響を与えたものとして、①新薬創出等加算の対象品目の絞り込みなどの抜本の見直し、②長期収載品<sup>※9</sup>の段階的引き下げなどの薬価見直し、③費用対効果評価の導入、の3つが挙げられる（図2）。

### (1) 新薬創出等加算の対象品目の絞り込みなどの抜本の見直し

革新性・有用性の観点から、対象品目が絞り込まれることに加え、革新的新薬の開発などの達成度に応じて加算する企業指標が新たに追加された。加算対象となる品目が大幅に限定されることで、製薬企業にとっては、現行薬価が維持されず、研究開発投資が回収できないリスクが高まるだけでなく、革新的新薬の開発に向けた原資も獲得しにくい仕組みとなった。

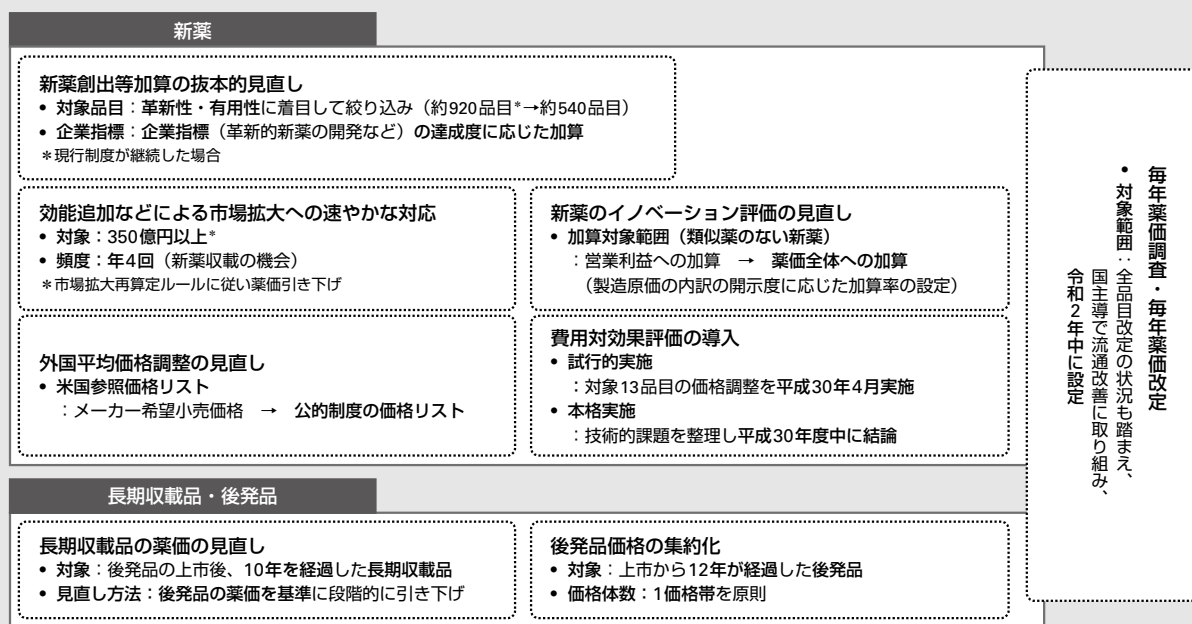
### (2) 長期収載品の段階的引き下げなどの薬価見直し

日本の医薬品産業を、長期収載品依存から高い創薬力に転換することを狙いに、長期収載品の薬価を後発品<sup>※9</sup>の薬価基準に段階的に引き下げるというものである。製薬企業としても、長期収載品依存からの脱却を目指しているものの、特許期間中に具体的な対応策を練れないまま、薬価の大幅引き下げを受ける企業が出たり、新薬の創出が特許切れまでに間に合わなかったりすることで、企業経営の安全性を確保しにくい状況となった。

### (3) 費用対効果評価の導入

本改革で2019（平成31）年4月から本格実施が明記された新たな評価手法である。市場規模の大きい医薬品・医療機器を対象に、費用対効果分析の結果に基づき薬価などを改定する仕組みで、これまで13品目を対象に試行的実施が行われていた。その検証を踏まえ

図2 薬価制度の抜本改革



出所) 厚生労働省「薬価制度の抜本改革」(平成29年12月21日)を基に作成

て、2019（平成31）年2月に「費用対効果評価の制度化」が了承され、本格実施に至った。本手法については、現行の薬価制度の課題として後段で詳細を論じる。

### Ⅲ 最新の医薬品開発動向と 現行の薬価制度の課題

#### 1 新技術を活用した 医薬品開発の現況

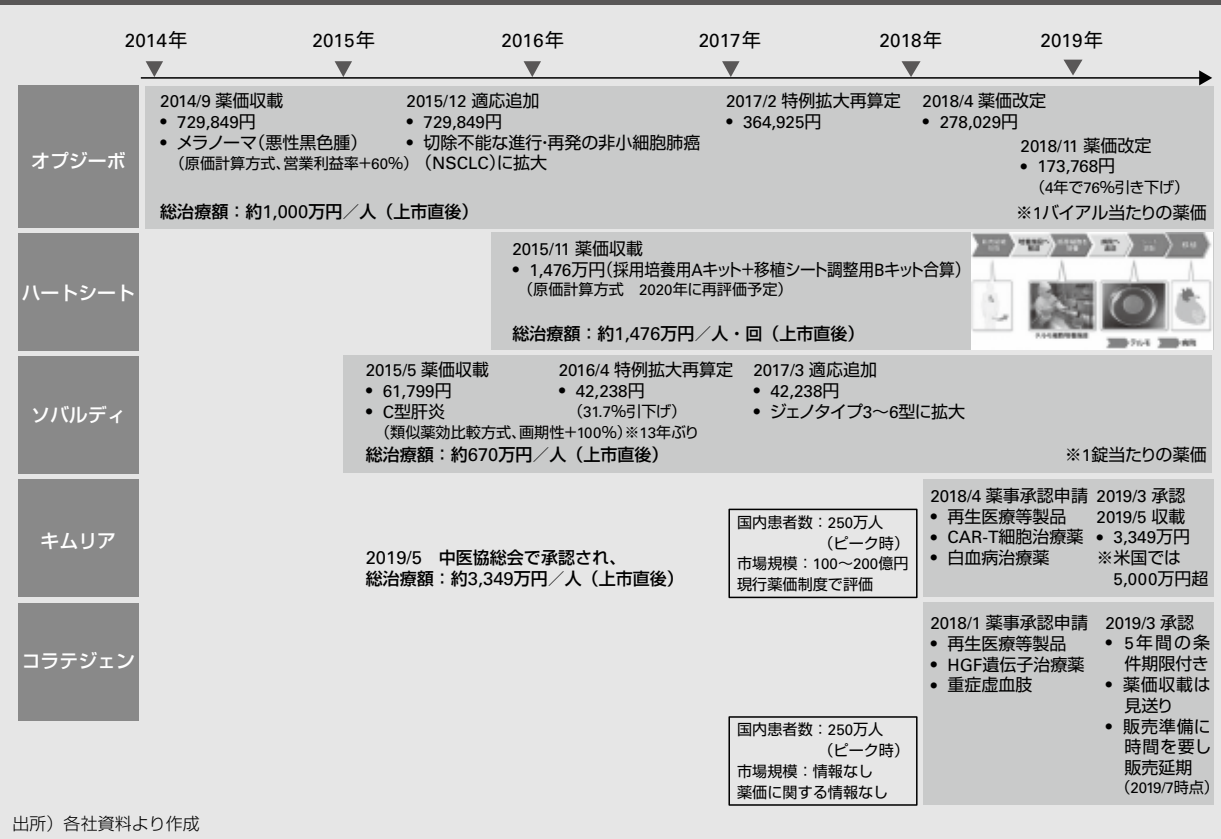
医薬品・医療材料領域では、医療分野をはじめ生化学分野などの著しい技術進歩によって、多岐にわたる新製品の上市が相次いだ。この20年間で創薬アプローチが劇的に変化しており、低分子医薬品を中心に進められてきた新薬開発は、バイオ医薬品に移っていった。具体的には、抗体医薬、分子標的薬、免

疫チェックポイント阻害薬や、遺伝子治療、細胞療法、再生医療といった治療法に、開発ターゲットがシフトしている。最新の解析技術を用いて疾病メカニズムを解明し、多様な技術を駆使した革新的新薬の開発が進められている。

前述の「オプジーボ」は免疫チェックポイント阻害薬の代表薬である。直近では、2019（平成31）年3月に、CAR-T細胞療法<sup>注10</sup>としてノバルティスファーマが承認申請した「キムリア」（白血病等治療薬）と、アンジェスMGが遺伝子治療用製品として承認申請した「コラテジェン」（重症虚血肢治療薬）が、再生医療等製品として承認された。

核酸医薬も世界で8成分が承認され、日本でも日本新薬がデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエキソン・スキッピング<sup>注11</sup>薬

図3 革新的新薬の上市と薬価改定の状況



出所) 各社資料より作成

(NS-065) の先駆け審査指定を受けた。順調なら2019（令和元）年中にも承認され、日本発の核酸医薬第一号となる可能性がある。

さらに、再生医療領域では、2015（平成27）年に承認されたテルモの「ハートシート」を皮切りに製品化され、このほかにも京都大学の山中伸弥教授を中心としたiPS細胞の臨床研究も進んでおり、医療分野における研究の進展に連れて、さまざまな革新的医薬品・医療材料の上市が予想される（図3）。

## 2 現行の薬価制度が抱える 構造的課題

近年の医療技術の進歩に対し、現行の薬価制度がその革新性を評価し得る枠組みかと問われると懐疑的な点が多い。その背景を2つの新薬を例に述べる。

### (1) 原価計算方式での薬価算定事例

類似薬や代替となる標準治療の存在しない新薬の場合は、原価計算方式によって薬価が設定される。前述した国内初となるCAR-T細胞療法「キムリア」は、イノベーションがいに評価されるかが業界でも注目を集める事例であった。キムリアは原価計算方式の有用性加算などが上乘せされ、続いて企業が提示した総原価2363万2062円を参考にしつつ審議が重ねられ、3349万3407円での保険収載に至った。患者の細胞から治療細胞を製造するため、高額になることは想定されていたが、米国の約6270万円、ドイツの約4130万円という償還価格と比べると低廉な薬価となった。

一方で、製造原価の開示度が高ければ4400万円程度に設定されていたとも考えられ、情報開示のみで1000万円程の評価差が生じていた

可能性もあった。日本の原価計算方式の課題は、研究開発費や製造原価などの情報開示度に応じて加算額が変わる点にあり、本質的なイノベーション評価ができていないと言え難い。

「キムリア」は高額薬剤のため、中医協で費用対効果評価の対象（H3）に選定され、今後、費用や効果に関するデータを企業が提供し、価格の妥当性を検証していくこととなった。今後、薬価が高いという理由で、価格での革新性の評価が下げられることも考え得る。

### (2) 類似薬効比較方式での薬価算定事例

次に、類似薬効比較方式を用いた革新的新薬の評価について、C型肝炎治療薬「ソバルディ」（2015（平成27）年に保険収載）を例に述べる。

類似薬効比較方式の場合、対象となる新薬と類似する効果・効能を持った医薬品が比較対象薬として置かれる。ソバルディの薬価は、「テラビック錠」（田辺三菱製薬、2011（平成23）年保険収載）などが比較薬として設定された。テラビック錠などの従来のC型慢性肝炎治療薬は、インターフェロンを用いた治療法で、患者への副作用が強いなどの改良点があった。それに対しソバルディは、インターフェロンフリー療法を実現した経口剤で、副作用を抑制して治療継続率を高めたり、肝硬変や肝がんの発症リスクを減少させたりと、従来の治療法と比べて患者のQOL（Quality of life）を向上させる画期的な治療を実現する医薬品であった。

その点が評価され、2002（平成14）年の抗真菌薬「ファンガード点滴用」以来の画期性加算適用となり、加算率も上限に迫る100%を得て、イノベーションの評価は一定程度な

された。最終的には、外国平均価格調整<sup>12</sup>による上乘せとなり、1錠6万1799円の高額薬価となった。保険収載当初の薬価で見ると、イノベーションを評価されたように受けとれるが、議論の経緯やその後の引き下げ事例を踏まえると課題も多い。

類似薬効比較方式の場合、比較対象薬と比べて価格が大きく乖離していないかを見ることが基本的な考え方となっている。新規性や画期性を評価するものの、比較薬の薬価に依存するところが大きい。「ソバルディ」の場合も、インターフェロンフリーという革新的な治療でありながら、製造原価ではインターフェロンを含む比較薬の方が高価になるため、高額薬剤になったという指摘があるほどであった。治療効果以外の、患者のQOL向上とほかの疾病誘発リスクの低減などによる生涯ベネフィット、さらには完治をもたらす完全寛解薬であることの社会的価値の評価は、本方式では含めることができない。

最終的には、外国価格参照制度により、米・英・ドイツ・フランスと同程度の価格を設定するに至るため、純粋にイノベーションを評価したとは言い難い。かつ、海外で上市されていない日本発の新薬や新技術は、価格評価が困難であると言っても過言ではない。

### 3 革新的新薬の評価を目的とした技術評価の検討状況

革新的新薬の評価をめぐり、これまで薬価制度の課題について述べたが、評価の柱は薬事承認審査と薬価評価の2本がある。

わが国の薬事承認審査体制については、2005（平成17）年頃に、治験や薬事承認に要する時間の長さを起因とし、米国などの先進

国と比べて新薬の上市が遅れる「ドラッグ・ラグ」が問題視されていた。薬事審査を所管するPMDA（医薬品医療機器総合機構）は、審査員の増強という体制面の強化を図り、政府も治験・臨床研究ネットワーク体制の拡充を推進したことなどにより、現在では解消に至っている。

もう一本の柱である薬価評価の仕組みは、1980年代の算定の土台から大きく変わらないまま、医療技術の目まぐるしい進化を適切に評価できる水準には追いついていないといえる。革新的技術の評価方法については、各国でその手法の研究が進められている。世界的な潮流として、いかに社会保障費を抑えるかが議論になっており、薬価と効能のバランスが重視され、質の低い医薬品は市場から淘汰されようとしている。この考え方は、Value-Based-Medicineと表され、イノベーションを正しく評価する上では、革新的新薬の使用がもたらす医学的、社会的、経済的、倫理的要素からなる多面的価値をシステムティックに、透明性高く評価できる医療技術評価（HTA）が求められている。

英国では、HTAの一種で、特に経費面を重視した費用対効果評価（Cost Effectiveness Assessment）に基づく償還可否判断を実践している。具体的には、IQALY<sup>13</sup>（質調整生存年）を上げるために必要となる増分費用対効果ICER<sup>14</sup>（=cost/QALY）が2～3万ポンドを下回るかで判断されることを当局が公表している（図4）。

英国のほか、ドイツ、フランス、米国などの欧米先進国では、承認した医薬品を保険償還するの可否かの判断や償還率の決定に際して費用対効果分析を実施している。



オランダやドイツでは研究開発減税を実施するなど、R&D投資を促す施策も実施されている。日本でも、可変的な薬価に対する新薬創出等加算ではなく、製薬企業の研究開発活動に対する税制軽減などを実施すべきといった指摘も少なくはない。

日本での医薬品の医療経済性の検討は、2012（平成24）年に中医協に費用対効果評価専門部会が設置され動き出した。いわゆる、医薬品に対するValue-Based-Pricingという考え方を、わが国の薬価算定制度にも組み込もうとした取り組みである。専門部会が設置された後、先行してHTAを早くから導入してきた英国、フランス、ドイツ、オランダ、米国を中心に調査研究を進めた。最終的に英国型の費用対効果評価方式に類似した制度の活用について諮問し、その後、2016（平成28）年には、本格的な実施の前に13品目を選定し、試験的導入に関する調査を実施した。対象となった製品は、オブジーボ、ソバルデ

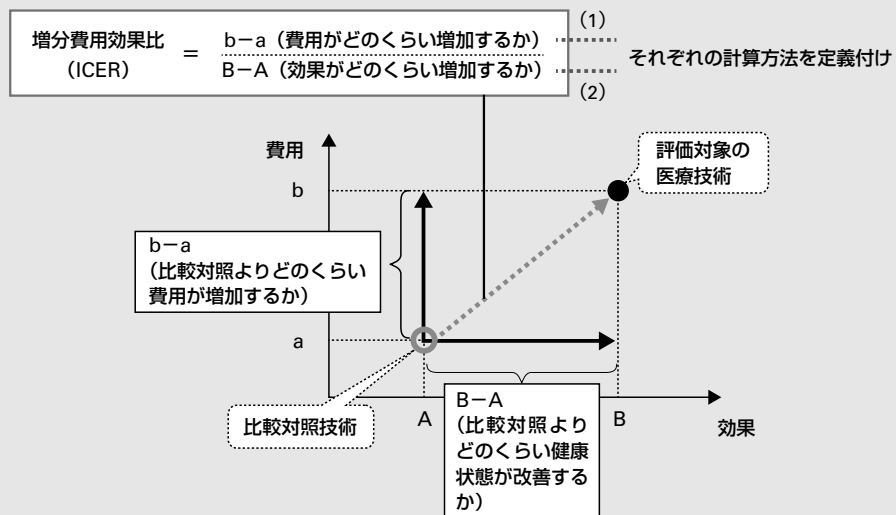
ィなどの医薬品7品目、医療機器6品目の13品目であった。2012（平成24）年度から2015（平成27）年度の間に保険収載された製品のうち、高い補正加算を得た製品や保険償還価格の高かったものが対象とされた。

2018（平成30）年3月には各製品の評価結果の一部が示され、分析が完了していたオブジーボ、カドサイラは薬価引き下げとなったが、医療機器のカワシミNajuta胸部ステントグラフトシステムについては、価格の引き上げの対象となるなど、実際、2018（平成30）年4月より対価が上がっている。

このような一連の制度研究、実証実験を経て、2019（平成31）年1月23日に開催された中医協費用対効果評価・薬価・保険医療材料専門部会で、有用性加算が算定されたピーク時売上高100億円以上の新規薬価収載品や、市場規模1000億円以上の既収載品を対象とすることが盛り込まれた費用対効果評価にかかわるガイドライン案が諮られ、了承された。

図4 費用対効果の分析の仕方

- ①評価対象の医療技術および比較対照の医療技術について、「費用」と「効果」を別々に積算
- ②増分費用効果比（ICER：Incremental Cost-Effective Ratio）を評価



出所) 中央社会保険医療協議会検討会資料 (2017 (平成29) 年2月8日) より

2019（平成31）年4月からは、有用性加算が算定されたピーク時売上高100億円以上の新規薬価収載品や、市場規模1000億円以上の既収載品に対して、費用対効果評価を実施することが中医協費用対効果評価・薬価・保険医療材料専門部会で定められ、日本版費用対効果評価の運用が開始された。

留意すべき点として、費用対効果評価の薬価制度における位置付けが、わが国と諸外国とでは大きく異なる。わが国以外の国では、承認された医薬品は保険償還すべき医薬品か償還是非の検討に用いるという基本的な考え方の下、イノベーションの評価に費用対効果分析を用いている。しかし、現時点においてわが国では、費用対効果評価が薬価の調整に用いられている（図5）。

## IV 新薬にかかわる薬価評価の将来展望

### 1 薬価評価の方向性

ここまで、わが国における革新的新薬の評

価制度について現状と課題を述べてきたが、現在の日本の薬価制度は諸外国と比べると算定方法の透明性が極めて高く、価格の根拠が分かりやすい制度という評価も得ている。

ただ、対処療法ともいえる改定や制度の見直しにより、制度そのものが硬直化してしまい、透明性を確保しようとするほど、定量的かつ定性的に評価すべき革新性の評価を難しくしている側面もある。既存の枠組みの中での調整にとどまっており、真の意味でイノベーションを評価する新しい方法が議論されにくい状況にあると見受けられる。イノベーションを適切に評価できなければ、製薬企業をはじめとする医療産業の研究開発の原資が確保できず、医薬品・医療業界の成長が止まることも懸念される。

既に、その問題が表面化している。イノベーション評価の一つとして設けられた新薬創出・適応外薬解消等促進加算も、2018（平成30）年4月に改定され、「真に有効な医薬品を適切に見極めてイノベーションを評価する」という方針の下、日本で積極的に新薬開

図5 医療技術評価と費用対効果評価の違い

HTA 医療技術評価	CEA 費用対効果評価
<p>—概要</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>医療技術の利用に関する医学的・社会的・経済的・倫理的な問題についての評価結果をシステムティックに、透明性をもって、偏見なく評価する一連のプロセスを指す</li> </ul> <p>—アウトカム指標</p> <p>医学的：生存時間の延長状況、重篤な症状や有害事象の回避・減少の程度、健康関連QOLの改善の程度、重要でない症状あるいは有害事象の回避度合いなど</p> <p>社会的：生産性損失、薬剤への患者アクセス、公衆衛生向上に与えるインパクト、医療技術の画期性など</p> <p>経済的：費用、医療財政への影響度、医療財政の持続性への影響度など</p> <p>倫理的：生命倫理や死生観に基づいた技術の評価</p> <p>—採用国</p> <p>ドイツ、フランス、オランダ、韓国</p>	<p>—概要</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>費用と効果を同時に評価し、類似治療技術・医薬品間での効果比較を基本とする評価手法を指す</li> <li>ICER（増分費用効果比）を用いて治療効果を定量的に測定し、閾値との比較により費用対効果が基準値よりも優れているかを比較する</li> </ul> <p>—アウトカム指標</p> <p>HTAに用いられる評価指標のICER</p> <p>※一般的には、cost/QALYが用いられる</p> <p>—採用国</p> <p>英国、フランス、韓国（一部）、オランダ（一部）、ドイツ（価格交渉難航時）</p>

発に取り組む企業には加算を増やし、そうでない企業は加算を減らすなどの条件が課された。グローバルに研究開発に取り組む製薬企業にとっては減算となるため、開発品の研究開発の継続を見送る企業もあった。

製薬企業は、パイプラインにある開発品の「多面的価値」<sup>※15</sup>を適切に評価する仕組みの導入を求めている。多面的価値とは、「医療的価値」にとどまらず、回復した患者の就労促進や介護者の負担軽減などによる労働生産性や経済性の向上といった、政策的に必要な医薬品の開発促進や医学・薬学の発展に寄与する価値を意味する。

産業界が求める多面的価値の評価は、既存の薬価制度では取り込み切れない。現在も製薬企業が医薬品の価値をアピールする機会はあるが、形式化しており、どこまで薬価に参照されたかは、価格が公開されないと分からないのが現状である。透明性を担保しつつ、革新性の高い医薬品や医療技術に対しては、汲み取れていない評価項目の再評価や妥当性を踏る場を設けるのも一つの方策で、たとえば他国の薬価算定プロセスに含まれる当局に対する「価格交渉」もその一つと考える。

2019（平成31）年4月より、薬価制度の抜本的改革で費用対効果評価が本格導入されたが、イノベーション評価としてではなく、薬価調整の手法として位置付けている点を踏まえると、新しい枠組みを継続的に検討していく必要があると考える。

## 2 予見される医療政策への影響

冒頭で、わが国の医療保険制度の維持と医療産業のイノベーション促進はトレードオフな関係にあると表現したが、本来はそれぞれで

施策を検討されるべき課題である。しかし現行制度では、イノベーションの原資が薬価制度から捻出されている側面もあり、切り分けて語ることはできない。これまで論じてきた通り、医療保険制度を維持するには医療費の抑制が必然で、特に高騰する薬剤費のコントロールは薬価改定による引き下げで対処してきた。

革新的新薬の適正な評価に医薬品産業界の納得性が得られないままでは、日本の競争力が損なわれることも危惧される。本稿では、既存の枠組みの継続による医療政策への影響を3点論じる。

### (1) グローバル・ローンチ戦略の

#### 劣後によるドラッグ・ラグの再燃

革新的新薬のイノベーションが適正に値付けられないマーケットでは、新薬の上市の優先順位が見直される可能性がある。

各国の薬価算定には、日本と同様に外国平均価格参照制度に準じる制度も存在する。日本では、米・英・ドイツ・フランスをベンチマークしている。新薬をより高い価格で評価するだろう国から上市すると、その価格が参照されるため日本でも価格が維持しやすくなり、売上も最大化できる。

製薬企業のグローバル・ローンチ戦略において日本の優先度が低下すれば、患者の新薬へのアクセスは数年遅れることとなる。以前の、承認審査体制に端を発して起こったドラッグ・ラグとは違い、ジャパン・パッシングが要因となるドラッグ・ラグが発生することも懸念される。革新的な医薬品や医療技術を国民がいち早く享受するためには、薬価制度の枠組みではなく、国家の医療政策として新たな評価プロセスを検討する必要がある。

## (2) 最適使用推進ガイドラインの拡充

医療保険財政の観点では、服薬による効果発現が低いと予見される患者に、高価な医薬品が選択されることは最適ではない。一定の効果が見込める患者や医薬品を使用できる医療機関の要件をガイドラインで定め、適正な使用を促すことが望ましい。この考え方に則り2016（平成28）年6月に「最適使用推進ガイドライン」が導入され、2019（令和元）年6月時点で8品目に対し19のガイドラインが作成されている。

年間販売額や高額薬剤であることを理由に薬価の引き下げを行うよりも、革新性を価格面で評価した上で、真に必要とする患者に適正に届けて効果の低い使用を抑制する方が、産業界だけでなく被保険者である国民の納得性も得やすい。承認した医薬品はすべて保険収載する方針を貫く上では、財政的負担軽減を念頭に置いて、適正使用を促す本ガイドラインの拡充と徹底が今後も強化されよう。

## (3) 患者の自己負担や保険適用範囲の見直し

日本の医療保険制度では、一般的な現役世代の医療費の自己負担は3割とされている。一定額以上の医療費を支払った場合は、高額療養費制度により超過した金額が支給され、自己負担額がさらに軽減される。諸外国の制度と比べても、日本のようにどの医療機関でも均一の自己負担で、幅広い医療・医薬品が使用できる国はない。

たとえば英国では、前述の通り、医薬品の使用推奨を費用対効果評価で判断しており、推奨されない医薬品は保険適用外となる。フランスでは、疾病により自己負担比率が異なり、がんやエイズなどの特定の深刻な疾病

は、支払い医療費が100%払い戻される。薬剤も投与の必要性や薬価により償還率が5段階に階層化されており、総合感冒薬などのリスクの低い医薬品は保険適用外としたり、効果の低い品目は償還率を下げたりしている。

日本でも、セルフメディケーションの意識醸成やスイッチOTC化<sup>注16</sup>に取り組んでいるが、医療費負担が低いため、軽症でも医療機関を受診し、処方薬を購入するという患者行動は変えられない。逼迫する医療保険財政を立て直すためには、疾病の重篤度による自己負担率の見直しや、リスクの低い軽症疾患用医薬品の保険適用縮小などが進む可能性も考えられる。

## 3 医薬品産業の対応策

最後に、薬価評価の動向、医療政策の方向性、それらにより日本の医薬品産業が直面している課題を踏まえて、製薬企業が取るべき対応策を3点論じる。

一つは、日本でも薬価評価に本格導入された医療技術評価（HTA）への対応強化が挙げられる。具体的には、リアルワールドデータ（RWD）<sup>注17</sup>の取得・整備、データサイエンティストなどの人材の育成・獲得といった高度な分析に対応し得る体制構築と、その分析結果を中央省庁、アカデミアなど幅広いステークホルダーに発信し、自社の革新的新薬・技術の社会的ベネフィットを適切に伝えるアドボカシー活動が必要となる。

第二に、最適使用促進ガイドラインの拡充や、薬剤の保険給付範囲縮小を見据えた、新薬および既収載品の提供手法の検討が求められる。最適使用促進ガイドラインでは、製薬企業からの情報提供が適正使用要件の前提と

なる。国内初のCAR-T細胞療法として保険  
 収載されたキムリアも、販売初期は2～3医  
 療機関に限定し、製造過程における品質管理  
 や重篤な副作用の徹底管理を重視した対応を  
 とっている。新薬の革新性を訴求するだけで  
 はなく、患者の安全と治療を第一に、リスク  
 と治療効果を適切に発信し対応する責務があ  
 る。

保険給付範囲の縮小を想定した対応として  
 は、リスクの低い安定した薬剤は一般用医薬  
 品へのスイッチも一つであろう。高額薬剤  
 は、効き目に応じて患者から支払いを受ける  
 「成功報酬型」での販売も考えられる。日本  
 の製薬企業としては、武田薬品工業が英国で  
 の販売で初めて成功報酬型を採用する方針を  
 発表している。日本においても、英国のPa-  
 tient Access Scheme (PAS) のように、保険  
 償還を受けられなかった医薬品を市場に流通  
 させる仕組みの検討も必要ではないか(表1)。

医療保険制度の維持のために講じられる薬  
 価改定などの政策は、医薬品産業側にとって  
 は事業成長を妨げるリスクであるが、受容し  
 なければならない変化でもある。日本の医薬  
 品市場は、薬価引き下げの影響もあり、その

成長率は高齢化に比して低く、先進諸国の水  
 準よりも緩やかに推移している。市場成長の  
 期待値が低く、イノベーションも評価されに  
 くい、さらには財務省の審議会<sup>18</sup>で販売管  
 理費比率の高さや費用構造の見直しが指摘さ  
 れる状況は、過去にない厳しい事業環境に置  
 かれているといえる。製薬のバリューチェー  
 ンそれぞれにおいて、生産性向上と筋肉質な  
 事業体への変革が急務となっている。特に、  
 政府から指摘も受けたマーケティング活動  
 は、既存の取り組みに加えて、さらなる構造  
 改革が必要となろう。たとえば、製剤に応じ  
 た資源投下のメリハリ強化、AIなどを活用  
 した高効率な情報提供、顧客データなどの共  
 同活用、オウンドメディアの共同運営など、  
 コア領域への集中投資とノンコア領域の外部  
 活用やシェアリングによる生産性向上が考え  
 られる。MRによる情報提供のデジタルトラ  
 ンスフォーメーション (DX) 化、マーケ  
 ティングオートメーションの実用など、マーケ  
 ティング活動の高度化により捻出された削減  
 効果を研究開発に向けて、成長のスパイラル  
 に乗ることで、社会保障や医療政策の変化に  
 強い経営へ変革することが求められている。

表1 PAS (Patient Access Scheme) を用いた患者への薬剤共有の手法 (英国)

単純値引	<ul style="list-style-type: none"> <li>・リスト価格は維持したまま、割引価格で製薬会社が供給 (最も一般的な手法)</li> </ul>
払い戻し	<ul style="list-style-type: none"> <li>・製薬会社が保険者に払い戻す 例) セツキシマブ 16%の払い戻し</li> </ul>
無償提供	<ul style="list-style-type: none"> <li>・製薬会社が無償で患者に提供 例) ゴリムマブ 100mgを50mgと同価格で提供</li> </ul>
投与量制限	<ul style="list-style-type: none"> <li>・設定量以上の投与は製薬会社が負担 例) レナリドミド 26サイクル以上は企業負担</li> </ul>
アウトカムに基づく 払い戻し	<ul style="list-style-type: none"> <li>・完全寛解または部分寛解の状況に応じて費用をNHSに払い戻す 例) ボルテゾミブ</li> </ul>

出所) 中央社会保険医療協議会資料福田「諸外国の費用対効果評価の現況について」2014年9月  
 医療経済研究機構「イギリス医療保障制度に関する調査研究報告書」などを基に作成

## 注

- 1 個別銘柄を取引価格の安い順に並べ、取引数量が90%に相当した量に対応する取引価格を薬価基準とする方式。当初は80%が基準であったが、1953（昭和28）年に90%に見直された
- 2 厚生労働省が設置する健康保険制度や診療報酬の改定などについて審議する諮問機関のこと
- 3 2017（平成29）年に加算条件が見直され「革新的新薬創出等促進制度」と名称を改めた。革新的・有用性の高い品目に評価を絞るとともに、企業要件にも、国内試験や国際共同試験の実施数などの実績要件を組み込んだ
- 4 未承認薬とは、海外で承認されているが日本では承認されていない医薬品。適応外薬は、海外でも日本でも承認されているが適応が異なり、日本では一部の適応で使用できない医薬品を意味する
- 5 市場拡大再算定とは、「予想年間販売額の2倍以上かつ年間販売額150億円超」、または「予想年間販売額の10倍以上かつ年間販売額100億円超」（後者は原価計算方式のみ適用）に該当する医薬品に対し最大25%（類似薬効比較方式は最大15%）引き下げの仕組み。特例は、「予想年間販売額の1.5倍以上かつ年間販売額1000～1500億円」に対して最大25%引き下げ、「予想年間販売額1.3倍以上かつ年間販売額1500億円超」に対して最大50%引き下げとする仕組み
- 6 先駆性加算が廃止され、画期性加算が新設された
- 7 2018（平成30）年の薬価改定でさらに引き下げとなり、1瓶（100mg）173,768円となった
- 8 長期取載品とは、既に特許が切れている、もしくは再審査期間が終了しており、同じ効能・効果を持つ後発医薬品が発売されている薬のこと
- 9 後発品とは、医薬品の有効成分そのものに対する特許である物質特許が切れた医薬品を、ほかの製薬会社が同じ有効成分で製造・供給する医薬品のこと
- 10 患者の体内のT細胞を取り出して、がん細胞を攻撃するよう遺伝子改変を加えて体内に戻す細胞療法
- 11 エキソン・スキッピング法とは、m-RNAをリボソームが読み取ってタンパク質を精製する際に、あえてm-RNAの読み取り部（コード）をずらすことで、正常な遺伝子から本来精製されるはずであった目的タンパク質に類似する別の代替タンパク質を作り出し、生体内で本来の機能を取り戻すという遺伝子治療の手法の一つである
- 12 外国平均価格調整とは、「自由価格制度」を採用する米国、英国、ドイツ、フランスにおける価格の平均額と比較して、大きな差が生じないよう基準値を設け薬価を調整する制度
- 13 QALY（Quality-Adjusted Life Year：質調整生存年）とは、疾病負荷の測定方法として単純に生存期間の延長を論じるのではなく、QOLを表す効用値で重み付けしたもの
- 14 ICER（Incremental Cost-Effective Ratio：増分費用対効果比）とは、1QALYを得るために必要となる費用
- 15 日本製薬工業協会「製薬協 政策提言2019——イノベーションの追求と社会課題の解決に向けて——」より引用
- 16 医療用医薬品と同一成分を有するリスクの低い医薬品を一般用医薬品として承認し、処方箋がなくても薬局やドラッグストアで購入できる医薬品
- 17 リアルワールドデータ（RWD）とは、臨床現場から得られる匿名化された患者単位のデータを指す
- 18 財務省財政制度等審議会財政制度分科会（2019（平成31）年4月23日）、財務省財政制度等審議会（2019（平成31）年6月19日）の発言より

## 著者

横内 瑛（よこうちあきら）

野村総合研究所（NRI）グローバル製造業コンサルティング部素材・ヘルスケア産業グループ主任コンサルタント

専門は社会保障政策研究、医療・介護関連事業の経営・事業戦略の立案、生産性向上、実行支援など

高藤直子（たかとうなおこ）

野村総合研究所（NRI）グローバル製造業コンサルティング部素材・ヘルスケア産業グループ上級コンサルタント

専門は医薬品、医療機器、一般用医薬品、医薬小売などヘルスケア領域全般