

政策研ニュース No.76

OPIR Views and Actions

2025年11月

目次

目で見る製薬産業

日米欧の新薬承認状況の比較（2024年）

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子…… 1

米国開発パイプライン数に見る日本の創薬研究の現在位置

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦 知絵

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔……11

前臨床段階への提携・買収実態調査 – 日本と他国の比較 –

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦 知絵……18

開発品を有する国内新興医薬品企業（EBP）に関する調査

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦 知絵

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井 大輔……29

CDMO 利用環境に関する日本の状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦 知絵……38

Points of View

システムティックレビューからみた

Patient-Reported Outcome Measure（PROM）介入による利点と課題

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原 慎治

医薬産業政策研究所 主任研究員 白石 隆啓

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美……44

補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移

– 2024年度薬価制度改革前後の動向（2025年8月までの調査） –

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野 九美……56

政策研だより

主な活動状況（2025年6月～2025年10月）……67

レポート・論文紹介（2025年6月～）……68

日米欧の新薬承認状況の比較（2024年）

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子

要約

- 2024年に日米欧で承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について調査した。
- 2024年の国内の全承認品目数は153品目、NME数が63品目であった。米国では全承認品目数が107品目、NME数が49品目であった。欧州では全承認品目数が161品目、NME数が37品目であった。
- 日本で承認されたNME63品目中、優先審査（希少疾病用医薬品を含む）は20品目、希少疾病用医薬品は18品目、迅速審査（優先審査を除く）3品目と2023年と比較して増加に転じた。
- 日本の審査期間の中央値は全承認品目で9.9か月、NMEで10.0か月であり、欧米と比較して最小であった。
- 2024年に新規に承認された再生医療等製品の数は日本1品目、米国10品目、欧州2品目であり米国の承認数が突出していた。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では、日本、米国、及び欧州の医薬品の承認情報に関して、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）、U. S. Food and

Drug Administration（FDA）及びEuropean Medicines Agency（EMA）がホームページ等で公表する情報をもとに継続的に収集、分析している¹⁾。政策研ニュース第68号²⁾では2022年に日本で承認された医薬品情報に関する分析結果を、政策研ニュース第70号³⁾では2022年の承認実績を中心に日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較分析結果を、政策研ニュース第73号⁴⁾では2023年に日本、米国、及び欧州で承認された新薬の承認数、薬事上特別措置件数及び審査期間を報告した。本稿では、継続調査として2024年の日米欧の新薬承認状況について報告する。

2. 調査方法

日本の調査対象はPMDAホームページの「新医薬品の承認品目一覧」⁵⁾に掲載されている医薬品とし、品目数は審査報告書毎にカウントすることを基本に、同一成分の品目を複数企業が同時申請した場合や併用薬物療法にて複数成分が承認された場合は1品目として集計した。日本承認品目におけるNew Molecular Entity（NME）の集計は、申請区分が新有効成分含有医薬品に該当するものを対象とした。各品目の承認情報は、審査報告書、添付文書、「新医薬品の承認品目一覧」及び

1) 医薬産業政策研究所、「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績」、リサーチペーパー・シリーズ No.69（2016年11月）
2) 医薬産業政策研究所、「日本で承認された新医薬品とその審査期間 -2022年承認実績と経年動向調査-」、政策研ニュース No.68（2023年3月）
3) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較」、政策研ニュース No.70（2023年11月）
4) 医薬産業政策研究所、「日米欧の新薬承認状況の比較」、政策研ニュース No.73（2024年11月）
5) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、新医薬品の承認品目一覧、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>

薬務公報から抽出した。申請日は審査報告書に記載される申請日とし、承認日は「新医薬品の承認品目一覧」に記載された承認日とした。

米国の調査対象は、FDA ホームページの「CDER Drug and Biologic Approvals for Calendar Year」⁶⁾に掲載されているNew Drug Application (NDA) 及び Biologic License Application (BLA)に該当する医薬品とした。NMEの集計は、「CDER New Molecular Entity (NME) and Original Biologic Approvals Calendar Year」⁷⁾に掲載されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、FDAホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目の Approval Letter に記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載された Approval Date とした。

欧州の調査対象は、EMA が中央審査方式にて承認し、「European Medicines Agency Annual Reports」⁸⁾に掲載された医薬品を対象とした。NME の集計は、「New active substance」に分類されている医薬品を対象とした。各品目の承認情報は、EMA ホームページ内の各品目情報から抽出した。申請日は各品目の Assessment Report に記載された申請書提出の日付とし、承認日は各品目情報に記載された Marketing authorization issued の日付とした。

薬事上の特別措置として、日本では優先審査、希少疾病用医薬品、先駆的医薬品指定制度（先駆け審査指定制度）、条件付き承認制度、迅速審査を、米国ではPriority Review、Orphan、Fast Track、Breakthrough Therapy、Accelerated Approval

を、欧州ではAccelerated Assessment、Orphan、Priority Medicine (PRIME)、Conditional Approval、Exceptional Circumstancesを対象に集計した。

審査期間については、標準的な統計解析ソフト Stata/IC 14.2 for Windows (Stata Corp LP, College Station, TX, USA) を使用し、申請日から承認日までの期間を“審査期間”として算出した。期間が著しく長い品目や特例により短い品目が存在することから、主たる基本統計量は中央値とし、サンプル数、平均値、標準偏差を併記した。

本稿における日本及び米国の承認数の集計対象は上記のとおりであり、再生医療等製品については対象外である。一方で欧州の集計対象には再生医療等製品に相当する品目も含まれる。再生医療等製品の承認数の推移を見るため、新規に承認された再生医療等製品数については以下を対象に別途集計した。日本は、PMDAホームページの「新再生医療等製品の承認品目一覧」⁹⁾に掲載されている品目のうち承認・一変別が「承認（条件及び期限付承認を含む）」または「新規」として記載された品目を対象とした。米国は、FDAホームページの「Approved Cellular and Gene Therapy Products」¹⁰⁾に掲載されている品目を対象として初回の承認を受けた年を承認年として集計した。欧州は、ATMP (Advanced therapy medicinal products) 指定¹¹⁾を受けて承認された品目に加え、日米の上記集計に該当する品目を対象とした。

6) Food and Drug Administration (FDA)、NDA and BLA Calendar Year Approvals、<https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/nda-and-bla-calendar-year-approvals>

7) Food and Drug Administration (FDA)、New Molecular Entity (NME) Drug and New Biologic Approvals、<https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/new-molecular-entity-nme-drug-and-new-biologic-approvals>

8) European Medicines Agency、Annual reports and work programmes、<https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes>

9) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、新再生医療等製品の承認品目一覧、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/ctp/0004.html>

10) Food and Drug Administration (FDA)、Approved Cellular and Gene Therapy Products、<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products> (参照：2025/8/31)

11) European Medicines Agency、Advanced therapy medicinal products、<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview> (参照：2025/8/31)

表1 新医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2015～2024年）

品目特性	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
承認品目数	106	125	85	109	130	125	135	174	106	153
部会 部会審議品目	71	96	49	67	79	80	97	89	59	100
区分 部会報告品目	35	29	36	42	51	45	38	85	47	53
申請 新有効成分含有医薬品（NME）	38	52	24	37	39	38	52	52	30	63
区分 (%)	(35.9)	(41.6)	(28.2)	(33.9)	(30.0)	(30.4)	(38.5)	(29.9)	(28.3)	(41.2)
新医療用配合剤	2	8	2	5	5	5	2	2	0	3
新投与経路医薬品	2	6	4	4	6	6	5	10	5	1
新効能医薬品	51	45	36	40	45	58	51	86	52	62
新剤型医薬品	3	1	2	1	3	2	0	2	1	2
新用量医薬品	9	11	14	15	18	12	21	17	15	18
バイオ後続品	0	1	2	6	8	2	4	2	3	2
類似処方医療用配合剤	0	1	1	1	1	2	0	1	0	2
その他の医薬品	1	0	0	0	5	0	0	2	0	0
審査 通常審査品目（迅速処理品目含む）	76	86	61	71	92	91	82	129	75	106
区分 優先審査品目	30	39	24	38	38	33	44	37	27	47
うち、希少疾病用医薬品	24	33	19	32	35	23	40	31	22	41
うち、希少疾病以外の優先審査品目	6	6	5	6	3	10	4	6	5	6
うち、先駆的医薬品指定制度対象品目	—	—	—	3	2	5	2	1	0	1
うち、条件付き承認制度対象品目	—	—	—	2	0	3	0	0	0	0
迅速処理品目	9	5	11	9	13	3	11	46	13	15
うち、事前評価済公知申請品目	4	5	5	9	5	3	3	30	7	7
特例承認／緊急承認に係る品目	0	0	0	0	0	1	9	8	4	0

注1：複数の申請区分に該当する品目は上位の区分に含めた。
 注2：希少疾病用医薬品（HIVを除く）、HIV感染症治療薬、希少疾病以外の優先審査品目を「優先審査品目」とした。
 注3：迅速審査品目及び事前評価済公知申請品目を「迅速処理品目」とした。
 注4：希少疾病用医薬品かつ迅速審査品目は、希少疾病用医薬品の区分を優先し「優先審査品目」とした。
 注5：特例承認として承認を受けた2020年の1品目、2021年の9品目、2022年の7品目及び2023年の4品目は通常の審査プロセスと異なるため、通常、優先、迅速には分類せずに「特例承認に係る品目」とした。
 注6：2022年緊急承認1品目は、特例承認品目と同じ区分に合算して集計した。
 注7：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
 出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）、及び業務公報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3. 結果

(1) 国内新医薬品の承認品目数とその内訳

① 新医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2015～2024年）

2015～2024年の間に日本で承認された新医薬品の承認品目数の年次推移、及び品目の内訳を表1に示した。2024年には153品目が承認され、そのうち新有効成分含有医薬品は63品目と過去最高値であった。

新有効成分含有医薬品以外の申請区分別の内訳では、新効能医薬品が62品目、新用量医薬品が18品目、新医療用配合剤が3品目、新剤形医薬品、バイオ後続品及び類似処方医療用配合剤がそれぞれ2品目、新投与経路医薬品が1品目であった。

審査区分別の内訳では、通常審査品目が106品目、優先審査品目は47品目であった。優先審査品目のうち、希少疾病用医薬品は41品目で大半を占め、2022年、2023年は減少が認められていたが、

2024年は増加に転じ、これまでの集計期間内で最多の承認数であった2021年の40品目を超えた。先駆的医薬品指定制度対象品目は1品目で、2019年に「再発又は難治性の抹消T細胞リンパ腫」を予定される効能・効果として先駆け審査指定制度の対象品目となっていたバレメトスタットトシル酸塩：エザルミア錠50mg、同錠100mgに対する再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫を効能・効果とする追加適応の承認であった。条件付き承認制度対象品目の承認数は0品目であった。迅速処理品目の承認数は15品目あり、このうち事前評価済公知申請品目数は7品目であった。2024年の特例承認及び緊急承認数は0品目であった。

② 希少疾病用医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2015～2024年）

2015～2024年の間に日本で承認された新医薬品のうち、希少疾病用医薬品の承認品目数の年次推

移を図1に示した。希少疾病用医薬品の2024年承認品目数は41品目（うちNME18品目）であり過去最高値であった。集計期間における割合は17.8%～29.6%の範囲で増減しており、NMEとそれ以外の割合に一定の偏りや傾向は認められなかった。

③ 薬効分類別承認品目の割合

2024年に日本で承認された新医薬品の薬効分類別の承認品目数を図2に示した。腫瘍用薬が最も多く19品目（30.2%）を占め、次に生物学的製剤12品目（19.0%）であった。そして、その他の代

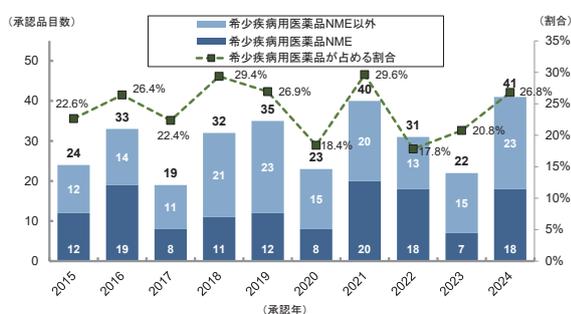
謝性医薬品6件（9.5%）、化学療法剤及び中枢神経系用剤がそれぞれ4件（6.3%）と続いた。

(2) 新医薬品の承認品目数の日米欧比較

① 日米欧の承認品目数

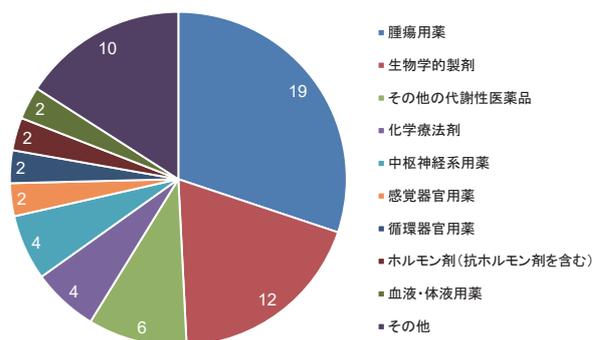
過去10年間（2015～2024年）の日本、米国、及び欧州で承認された新医薬品の承認品目数を図3

図1 希少疾病用医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2015～2024年）



出所：新医薬品の承認品目一覧をもとに医薬産業政策研究所にて作成

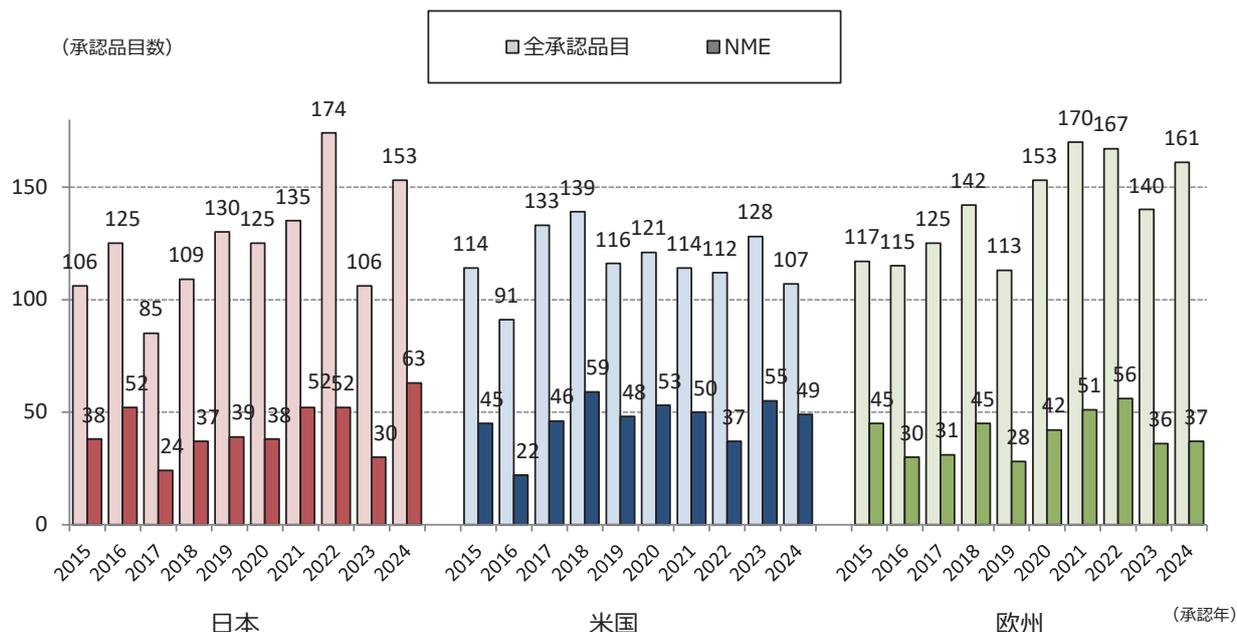
図2 希少疾病用医薬品の承認品目数とその内訳（承認年毎；2015～2024）



注：その他には、末梢神経系用薬、その他の神経系及び感覚器官用医薬品、呼吸器官用薬、消化器官用薬、外用薬、歯科口腔用薬、滋養強壮薬、放射性医薬品、アレルギー用薬、抗生物質製剤を含む。

出所：審査報告書、新医薬品の承認品目一覧、添付文書（いずれもPMDA）、及び薬務公報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 過去10年間の日米欧の承認品目数



注：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。

出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

に示した。日本における承認品目数は(1)国内新医薬品の承認品目数とその内訳で示した通りである。米国では2024年に107品目が承認され、そのうちNMEは49品目であった。欧州では161品目が承認され、そのうちNMEは37品目であった。米国の2024年のNME数は2023年に比べて6品目減少し、全承認品目数も減少したが、日欧では2023年に比べてNMEがそれぞれ33品目、1品目増加し、全承認品目数も増加した。

② 薬事上の特別措置を受けたNME承認品目数

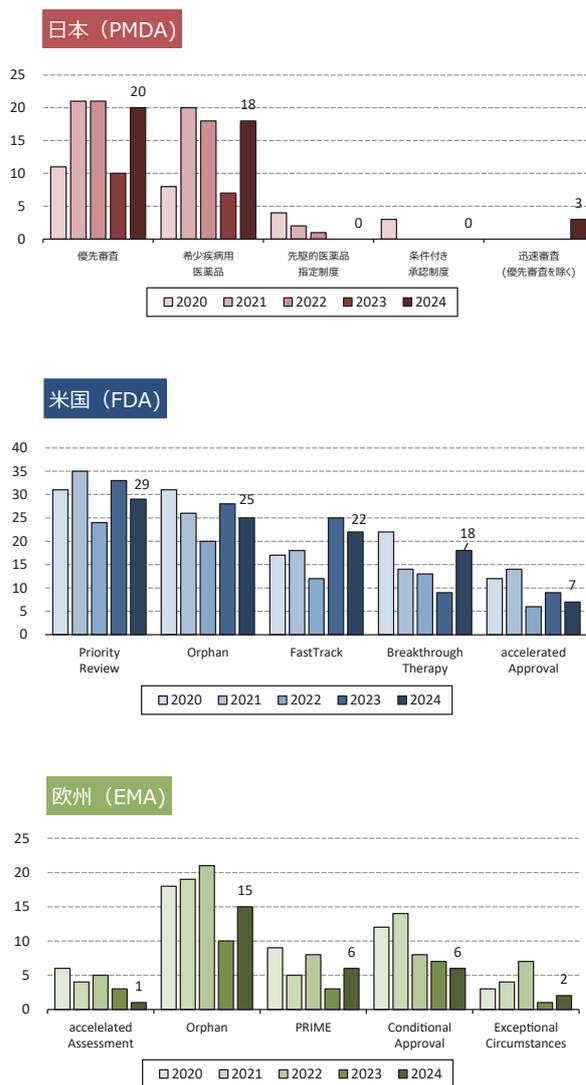
日米欧で過去5年間（2020～2024年）に承認されたNMEのうち、各地域の薬事上の特別措置を受けた品目数を図4に示した。

2024年に日本で承認されたNME 63品目中、優先審査（希少疾病用医薬品を含む）は20品目（31.7%）、希少疾病用医薬品は18品目（28.6%）と2024年のNME数は2023年より増加したことに連動してか、優先審査、希少疾病用医薬品に該当するNME数も2023年と比較して増加に転じた。過去4年間0品目であった迅速審査（優先審査を除く）も3品目認められた。

米国では、2024年に承認されたNME49品目中、Priority reviewは29品目（59.2%）、Orphan指定品目は25品目（51.0%）、Fast Track指定品目は22品目（44.9%）、Breakthrough Therapy指定品目は18品目（36.7%）、Accelerated approvalは7品目（14.3%）であった。2024年の米国NME数は2023年より減少し、薬事上特別措置を受けたNME数もほとんどの措置で減少が認められたが、Breakthrough Therapyは2023年より増加が認められた。

欧州については、2024年に承認されたNME37品目中、Accelerated Assessmentは1品目（2.7%）、Orphan指定品目は15品目（40.5%）、PRIME指定品目は6品目（16.2%）、Conditional Approvalは6品目（16.2%）、Exceptional Circumstancesは2品目（5.4%）であった。欧州の2024年NME数は2023年から1品目のみの増加であったが、薬事上特別措置を受けたNME数はOrphan指定品目、PRIME及びExceptional Circumstances指定品目

図4 薬事上特別措置を受けたNME数



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

で増加が認められ、Accelerated Assessment及びConditional Approvalでは減少が認められた。

③ 審査期間の中央値の年次推移

過去10年間（2015～2024年）の日本、米国、及び欧州で承認された医薬品の承認年毎の審査期間、中央値、平均値、標準偏差を表2に、NMEの審査期間、中央値、平均値、標準偏差を表3に、それぞれの審査期間中央値の年次推移を図5、図6に示した。NMEのうち審査期間の短縮を目的とした薬事上の特別措置（日本：優先審査、先駆的医薬品指定制度、米国：Priority review、Breakthrough Therapy、欧州：Accelerated Assess-

表2 審査期間（月数）の推移（全承認品目；2015年～2024年）

承認年	日本（PMDA）				米国（FDA）				欧州（EMA）			
	N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）		
		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差
2015	106	9.9	11.4	19.2	114	10.1	16.4	17.7	117	11.4	11.9	4.7
2016	125	10.1	10.3	3.4	91	10.0	14.4	12.7	115	12.1	12.4	4.4
2017	85	10.0	9.9	3.4	133	10.0	13.8	16.5	125	11.6	12.4	6.2
2018	109	9.9	9.7	4.8	139	10.0	19.3	21.7	142	12.6	12.9	5.4
2019	130	9.9	9.9	3.3	116	9.9	14.3	20.1	113	11.9	12.3	5.1
2020	125	10.7	10.6	5.7	121	10.0	16.5	18.8	153	12.2	12.1	4.4
2021	135	9.9	9.8	2.6	114	9.9	14.9	15.4	170	12.3	11.8	4.6
2022	174	9.4	9.1	3.6	112	11.0	19.5	21.2	167	12.4	12.6	5.7
2023	106	10.3	11.0	8.6	128	10.8	22.7	32.6	140	12.2	12.9	5.2
2024	153	9.9	9.8	2.5	107	10.0	16.0	15.6	161	12.6	13.0	5.5
合計	1,248	10.0	10.1	7.0	1,175	10.0	16.9	20.4	1,403	12.3	12.4	5.2

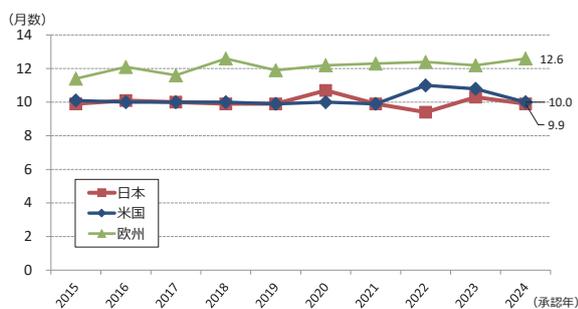
注1：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
 注2：日本の2020年の特例承認1品目、2021年の特例承認9品目、2022年の特例承認7品目及び緊急承認1品目、2023年の特例承認4品目は通常の審査プロセスと異なるため、承認品目数にのみ含めた。
 注3：欧州で申請日情報の得られなかった品目については承認品目数にのみ含めた。
 出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表3 審査期間（月数）の推移（NME；2015年～2024年）

承認年	日本 NME（PMDA）				米国 NME（FDA）				欧州 NME（EMA）			
	N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）			N	審査期間（月数）		
		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差
2015	38	9.3	9.8	1.9	45	11.0	14.6	17.0	45	13.7	13.9	3.5
2016	52	10.2	10.5	3.9	22	11.0	10.0	3.7	30	14.0	14.3	4.3
2017	24	10.9	11.4	3.7	46	8.0	10.9	7.5	31	13.6	15.1	8.3
2018	37	10.3	10.7	7.0	59	8.0	9.7	5.3	45	14.1	15.8	5.3
2019	39	10.0	10.9	4.8	48	8.0	14.9	25.8	28	13.8	15.5	5.5
2020	38	10.6	11.2	8.9	53	8.0	11.1	8.6	42	13.8	13.3	4.4
2021	52	9.9	10.3	3.0	50	8.0	10.3	5.1	51	13.8	12.9	5.9
2022	52	10.8	11.3	4.4	37	11.0	17.7	25.3	56	14.0	13.8	5.2
2023	30	10.9	13.0	13.3	55	11.0	18.9	38.0	36	14.7	15.0	5.2
2024	63	10.0	10.2	2.2	49	11.8	14.7	10.6	37	14.1	15.3	4.0
合計	425	10.2	10.8	5.8	464	9.9	13.3	18.8	401	14.0	14.4	5.3

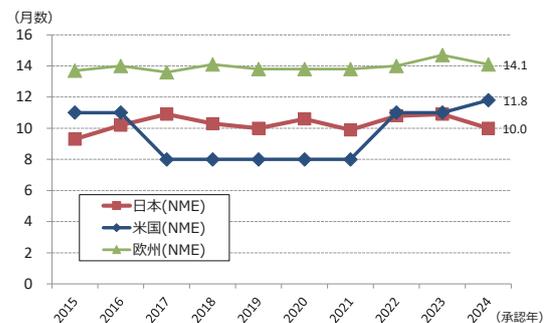
注1：引用資料のデータ更新及び再集計にともない、過去の公表データ中の数値が修正されている場合がある。
 注2：2020年の特例承認1品目、2021年の特例承認6品目、2022年の特例承認2品目及び緊急承認1品目は通常の審査プロセスと異なるため、承認品目数にのみ含めた。
 出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図5 審査期間（中央値）の年次推移（全承認品目）



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図6 審査期間（中央値）の年次推移（NME）



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表4 薬事上特別措置を受けた NME の審査期間

	承認年	NME			
		N	審査期間 (月数)		
			中央値	平均値	標準偏差
日本 (PMDA)					
優先審査	2024年	20	8.1	8.7	2.5
	2023年	10	8.4	9.0	4.8
	2022年	21	9.1	10.3	5.8
先駆的医薬品 指定制度	2024年	0	-	-	-
	2023年	0	-	-	-
	2022年	1	5.9	5.9	-
通常審査	2024年	40	10.9	11.2	1.4
	2023年	20	11.1	15.0	15.7
	2022年	28	11.1	12.1	2.7
米国 (FDA)					
Priority review	2024年	29	8.0	12.7	11.7
	2023年	33	8.0	12.2	9.1
	2022年	24	8.0	16.9	31.0
Breakthrough Therapy	2024年	18	8.0	12.3	10.8
	2023年	9	8.0	12.7	7.7
	2022年	13	11.0	13.1	5.8
Accelerated Approval	2024年	7	8.0	8.0	0.6
	2023年	9	8.0	8.5	1.4
	2022年	6	8.9	9.4	1.9
Standard review	2024年	20	12.0	17.5	8.2
	2023年	22	12.0	28.9	58.4
	2022年	13	14.9	19.1	9.1
欧州 (EMA)					
Accelerated Assessment	2024年	1	8.1	8.1	-
	2023年	3	8.0	7.9	0.3
	2022年	5	8.3	8.1	0.9
PRIME	2024年	6	13.1	12.3	2.5
	2023年	3	11.1	10.0	2.2
	2022年	8	13.1	12.3	4.6
上記以外	2024年	31	14.3	15.9	4.0
	2023年	31	15.4	15.9	5.0
	2022年	46	14.3	14.3	5.3

* 日本の優先審査に、先駆的医薬品指定制度、希少疾病用医薬品を含む

出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

ment、PRIME)を受けた品目の審査期間については表4に示した。

調査対象の全期間における審査期間の中央値は、日本10.0か月、米国10.0か月、欧州12.3か月であった。2024年は日本9.9か月、米国10.0か月、欧州12.6か月であり、さらに平均値で見ると日本9.8か月、米国16.0か月、欧州13.0か月と日本が最小値を示し、標準偏差が小さく安定的な審査期間となっていた(表2)。年次推移では図5のとおり調査

期間内に大きな変動はなく、日本における審査期間の中央値は概ね10か月程度で、米国と同等の期間で維持されていた。

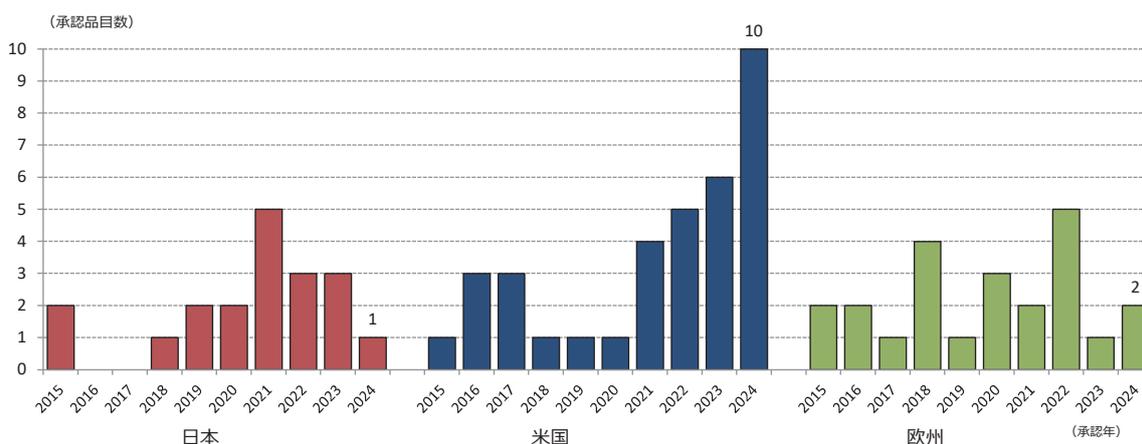
NME について調査対象の全期間における審査期間の中央値は、日本10.2か月、米国9.9か月、欧州14.0か月であった。2024年の審査期間の中央値は、日本10.0か月、米国11.8か月、欧州14.1か月であり、平均値では日本10.2か月、米国14.7か月、欧州15.3か月と NME についても値は日本が最小で標準偏差が小さく安定的な審査期間を示し、全承認品目と NME ではほぼ差がない数値であった(表3)。年次推移では図6のとおり日米欧ともに調査期間内に大きな変動はないといえるが、直近3年間の日本の審査期間は米国よりも短い数値を示した。

表4のとおり、日本での2024年の優先審査品目における NME 承認数は20品目と2023年より増加した。審査期間の中央値、平均値はそれぞれ8.1か月、8.7か月であり、どちらも直近3年間で最も短い数値であり着実な短縮が認められた。また、審査期間の標準偏差が非常に小さく安定していた。先駆的医薬品指定制度指定品目の NME 承認は直近2年間で存在しなかった。米国での2024年の Priority review 指定品目の NME 承認数は29品目で2023年から減少した。審査期間(中央値)は8.0か月と直近3年で変化なく維持されていた。Breakthrough Therapy指定品目は18品目、Accelerated Approval 指定品目は7品目で、審査期間(中央値)はどちらも8.0か月と Priority review と同様の数値であった。欧州では、2024年の Accelerated Assessment 指定品目は1品目で審査期間(中央値)は8.1か月と、指定を受けていない品目と比較して約6か月短かった。また、PRIME の指定品目は6品目で、審査期間(中央値)は13.1か月であった。薬事上の特別措置を受けた品目の審査期間は、通常審査品目と比較して顕著に短縮していた。

(3) 再生医療等製品の承認数の日米欧比較

日本、米国、及び欧州で承認された再生医療等製品に相当する製品の新規承認数(2015~2024年)

図7 再生医療等製品の新規承認数（2015～2024）



出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

を図7に示した。日本では2024年に新規承認を得た品目は1品目、サンバイオのアクーゴ脳内移植用注（外傷性脳損傷）で、日米欧比較において日本が先行して承認国となった品目であり、条件及び期限付承認の適用を受けている。また、欧州では2品目が承認を受けたが、米国で既に承認を受けている品目であった。米国では2024年に新たに10品目の承認を受け新規承認数は突出していた。このうち1品目は日本で、2品目は欧州で既に承認を受けており、他7品目は米国で先行して承認を取得した品目であった。

近年は日米欧いずれの国においても新規に承認を受けた品目数が増加している傾向が認められていたが、2024年は日本、欧州における明確な増加は認められず、一方で米国では昨年の過去最多承認数を大きく超える増加が認められた。

4. まとめ・考察

本稿では、日本、米国、及び欧州で2024年に承認された新医薬品の承認品目数、薬事上特別措置件数及び審査期間について、それぞれの規制当局の公表情報を元に集計、比較調査した。

日本の2024年の承認品目数は、全承認品目数とNME数のいずれも過去10年間で最多であった2022年の数値と比較して全承認品目数としては下

回ったものの、NME数としては過去最多の数値（63品目）となった。希少疾病用医薬品の承認数も過去最高値（41品目、うちNME18品目）を示した。政策研ニュース第75号の報告では小児適応に対する新医薬品の国内承認件数も2024年に大きく増加していることが確認¹²⁾され、医薬品開発中の小児用医薬品開発計画策定の義務化や小児・希少疾病などに対する薬価加算適用等の新たな審査、薬価制度等各種対応による効果が追い風となる可能性も考えられ、今後の推移に注目したい。

日本におけるNME品目の薬効分類を見ると、腫瘍用薬19品目（30.2%）が突出して多かった。がんは依然として日本における主要な死因となっており¹³⁾、アンメット・メディカル・ニーズの高さが窺われる。また、患者特性に合わせた治療薬が多くみられ、近年の個別化医療の進展による影響が反映されたものと考えられた。次に生物学的製剤12品目（19.0%）が多く、うち8品目がワクチンであり、COVID-19パンデミック以降、様々な感染症、あるいは予防医療への関心の高まりが見て取れる。

米国、欧州の承認数については、欧州は昨年から1品目の増加が見られたが、米国については全承認品目数、NME数のいずれも2023年を下回った。薬事上の特別措置を受けたNME数について

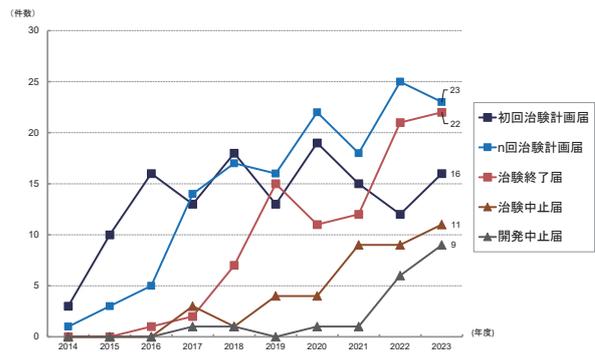
12) 医薬産業政策研究所、「小児用医薬品の国内承認及び収載に関する最新動向」、政策研ニュース No.75（2025年7月）

13) 厚生労働省、令和6年（2024）人口動態調査（確定数）の概況

も、NMEの全体数の推移と同様に日本と欧州では2023年に比較して全体数は増加し、米国では減少した。日本においては、優先審査（希少疾病用医薬品を含む）に該当するNME承認数は20品目あったものの、迅速審査が3品目、先駆的医薬品指定制度及び条件付き承認制度は昨年度に続きいずれも0品目であった。特別措置を受けている品目の割合から、米国では指定の割合が大きく、また、欧州では幅広い制度が活用されていることが分かる。日本においても欧米に匹敵する各種特別措置が設計、施行されている一方で、指定数からは十分な制度の活用がなされていないといえる。

審査期間については、全承認品目とNMEのいずれも平年並みであり、各極ともに10～15か月であった。本稿で分析した審査期間は申請資料提出日から承認日までとしており、日米欧の各当局から発行される各種レポートにおける審査期間とは一部異なり、当局からの照会事項に対応する時間も含めて審査期間としている。本稿の分析において2024年の日本の審査期間の標準偏差は非常に小さく、審査期間の中央値は日米欧で最小であった。世界初承認を受ける事例が多い米国では申請から承認までの期間が長くなる可能性があるが、2～3番手に申請する事例が多い欧州と日本の比較でも日本の審査期間の方が短かった。薬事上特別措置を受けたNME品目の審査期間を見ると、日本の優先審査品目の審査期間は欧米における特別措置品目に対する期間と同等のレベルに短縮された（約8か月）といえる。一方で、日本の通常審査品目の審査期間についても優先審査品目との差は2～3か月程度であり、欧米の通常審査品目の審査期間との比較では1～3か月程度短い期間で承認されていた。また、2024年のNME数が調査期間である過去10年間で最多となっているにも関わらず、審査期間を延ばす方向への影響は見られなかった。これらのことから、日本では特別措置品目に対しては欧米と同等以上に審査期間が短くなって

図8 治験届件数の推移（再生医療等製品）



注：n回治験計画届は、30日調査対象外（2回目以降）の治験届である。

出所：独立行政法人 医薬品医療機器総合機構「治験計画届出件数」

出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK2025をもとに医薬産業政策研究所にて作成

きており、加えて通常審査においても欧米以上の短期間、そして安定的に当局の設定する目標期間¹⁴⁾内に審査完了が見込めるという点は、新薬上市に向けた開発タイムライン上の予見性も高まることから、日本の審査制度の優れた点であると言える。

2024年に新規に承認された再生医療等製品数は、米国で10品目と急激な増加が認められた。一方、日本は1品目、欧州は2品目となっており日本での開発の遅れが懸念される。再生医療等製品となることを見込まれる加工細胞等に係る治験を実施しようとする場合、その計画を届け出なければならないことが規定されており¹⁵⁾、この届出の年次推移を図7に示す。

この推移からは、治験計画届出数は順調に増加傾向が認められると言えるが、一方で治験中止届や開発中止届出数も2021～2022年頃より増加している状況が見られる。この傾向の意味するところは推測の域を出ないが、日本における再生医療等製品開発の厳しさを示唆するものと言える。再生医療等製品特有の各種課題解決に向けた対策が進められることを期待する。

14) 令和6年3月28日付け厚生労働省発医薬0328第55号認可「独立行政法人医薬品医療機器総合機構中期計画」、<https://www.pmda.go.jp/files/000267756.pdf>

15) 令和2年8月31日付け薬生発0831第7号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知「加工細胞等に係る治験の計画等の届出等について」

日本で2024年に承認された品目は、再生医療等製品における条件及び期限付承認の適用品目であり、これまでに条件及び期限付承認が適用された製品は累計5品目となった。再生医療等製品に対する条件及び期限付承認制度は、治療を待つ患者に製品を早期に届けることを目的として設立された承認制度¹⁶⁾であり、安全性が確認され、有効性が「推定」される再生医療等製品に対して、市販後調査等の一定の条件と原則7年以内の期限を付けて承認が与えられるものである。製造販売後調査等の結果に基づき、期限内に改めて申請をすることで製造販売後承認条件評価が行われることが前提となっている。2024年には本制度適用品目のうち2品目において承認の取り下げが認められた。両品目ともに期限を迎えた時点で正式な承認申請が行われたが、1品目は、市販後調査において国内第III相臨床試験成績を再現できなかったこと¹⁷⁾により承認を取り下げしており、もう1品目は、使用成績調査等の結果を再生医療等製品・生物由来技術部会で審議した結果、条件及び期限付承認時に設定した達成基準を満たさず、正式に承認することは適切ではないと判断され¹⁸⁾、¹⁹⁾承認取り下げに至った。これらの事例は、「条件及び期限付承認制度」が適切に機能していることを示す一方で、革新的技術の社会実装における症例収集、調査設計、有効性検証、医療現場等への説明責任、保険収載など複数の現実的な課題を浮き彫りにした。この事例を受けて厚生労働省は、条件及び期限付承認制度の適用に係る予見性を高め、再生医療等製品の更なる開発の促進に資することを目的として、「再生医療等製品にかかる条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関する

ガイダンス」を発出²⁰⁾し、保険適用の在り方についても、次期診療報酬改定に向けて、議論を深める方向性を示している²¹⁾。

この経験は、有効性検証の重要性を再認識させるとともに、今後の開発・承認プロセスにおける倫理的配慮や情報公開の在り方を再考する上で、重要な示唆を与えるものである。しかしながら、本事例をもって日本における特別措置の活用を回避する理由とすべきではなく、むしろ得られた教訓を踏まえた制度設計や運用への適切な反映が求められる。すなわち、こうした革新的医療の早期提供と社会的信頼の確保の両立を可能とする制度設計の洗練が、今後の大きな課題であるといえる。

5. おわりに

2024年は日本においてNME承認数が過去最多を記録し、特に希少疾病や小児適応などの領域で承認数の増加がみられた。また、審査期間については日米欧で最短かつ安定した水準を維持しており、新薬開発の予見性を高める環境が整いつつあることが確認された。一方で、特別措置制度の活用が限定的であることや、再生医療等製品における承認取り下げ事例は、制度運用上の課題を顕在化させた。しかし、これらは制度そのものの否定ではなく、今後の改善につながる貴重な経験と捉えるべきである。革新的医療の早期提供と科学的・倫理的妥当性の両立を図るためには、産官学が一体となって制度設計の洗練と透明な運用を進めることが求められる。日本が引き続き国際的な新薬開発の重要な拠点となるために、本稿で得られた知見が今後の議論と取り組みに活かされることを期待したい。

16) 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律 第二十三条の二十六（条件及び期限付承認）

17) アンジェス株式会社、ニュースリリース（2024年6月24日）、

https://www.anges.co.jp/pdf_news/public/TazsoPCLHKNaMQeOpFQiNxxkPTp3JWl6b.pdf

18) テルモ株式会社、ニュースリリース（2024年7月20日）、

<https://www.terumo.co.jp/newsrelease/detail/20240720/10371>

19) 厚生労働省、薬事審議会、再生医療等製品・生物由来技術部会「審議の概要について」（2024年7月19日）、

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_41633.html

20) 令和6年3月29日付け医薬機審0329第3号厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知「再生医療等製品に係る条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンスについて」

21) 厚生労働省、中央社会保険医療協議会総会、第591回議事録（2024年7月3日）、

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_41909.html

米国開発パイプライン数に見る 日本の創薬研究の現在位置

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦知絵
医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔
医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔

要約

- 本稿では、Citeline 社のデータベース（Pharmaprojects[®]）を用いて、オリジネーター企業の本社国籍別に開発パイプライン数を調査した。
- 日本国籍企業由来の開発パイプライン数は、米国、中国に次いで3番目に多かった。
- 中国国籍企業由来品が米国について多く中国の創薬の活発化が見てとれた。その8割以上は中国のみで開発されているものであったが、米国での開発に至ったパイプライン数としても中国は米国に次ぐ2位であった。
- 日本由来の開発パイプラインでは低分子が6割超を占めていた。
- 日本由来の開発パイプラインでは、抗がん剤、神経疾患の順に多く、神経疾患の占める割合は他国に比べて多かった。
- 新規メカニズムを志向したパイプラインも他国同様の割合で生じており、神経疾患に関する開発パイプライン数では米国に次いで多かった。

1. はじめに

医薬産業政策研究所では日本の創薬力の現状を評価すべく各種分析を行っており、日米欧承認品

目の動向¹⁾や、医薬品世界売上高上位100品目における日本起原品目数²⁾など定期的に報告している。また、日本の創薬力の比較対象研究として、米国の Emerging Biopharma 起原品に着目しその上市済み製品の特性や創業者の特徴などを報告している^{3、4)}。これらの調査はいずれも既承認品目の数を評価指標にしたものである。これらの調査に加え本稿では、現在開発中のパイプライン数という観点から日本の創薬力を他の主要創薬国と比較することにより日本の立ち位置についての考察を試みた。

なお、本稿での解析はCiteline社のPharmaprojects[®]に収載されたパイプライン情報をもとに集計したものである。先行研究としては同一のデータベースを用いて前臨床段階からのパイプライン数について解析したCiteline社の年次報告書⁵⁾があるが、本稿では臨床入り後かつ開発実施地域に米国を含むパイプラインに限定し、日本を中心に他国との比較を重点的に解析した。

2. 調査方法

本稿では、Citeline 社のデータベースである Pharmaprojects[®]をもとに、2025年7月時点で収載されていた開発パイプラインについてオリジ

1) 医薬産業政策研究所「日米欧の新薬承認状況の比較（2024年）」政策研ニュース No.76（2025年11月）

2) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍－2023年の動向－」政策研ニュースNo.74（2025年3月）

3) 医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国 EBP に関する調査」ポジションペーパーNo.5（2024年12月）

4) 医薬産業政策研究所「米国 EBP 由来医薬品に関する調査－バイオ品と低分子品の比較－」ポジションペーパーNo.8（2025年7月）

5) “Pharma R&D Annual Review 2025”、Citeline 社 HP、<https://www.citeline.com/en/rd25>（参照：2025/09/30）

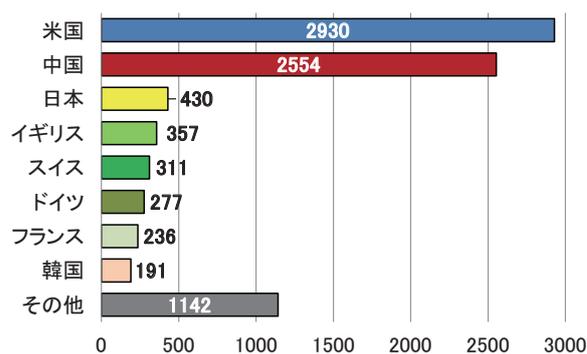
ネーター国籍別の分析を行った。オリジネーター企業はPharmaprojects[®]の定義に従うこととし、Pharmaprojects[®]に記載されたオリジネーター企業の本社国籍を本稿における「オリジネーター国籍」とした⁶⁾。3-1及び3-2では、主要開発地域として米国、日本、欧州、中国で開発段階にある成分を抽出し、オリジネーター国籍別パイプライン数と、開発実施地域の割合を集計した⁷⁾。このうち開発実施地域が米国である成分をさらに抽出し、3-3でオリジネーター国籍別パイプライン数を集計した。3-4及び3-5では、3-3で集計したパイプラインにおける各モダリティ⁸⁾と各対象疾患⁹⁾の占める割合をオリジネーター国籍別に集計した。また、3-6では各成分が作用する標的部位(“Target”)が上市済みの成分と一致しないパイプライン数について、3-5で集計したパイプライン数に占める割合を分析した¹⁰⁾。

3. 結果

3-1. オリジネーター国籍別の開発パイプライン数

Pharmaprojects[®]に記載されているパイプラインから米国、日本、欧州、中国のいずれかで開発段階にある成分を抽出したところ、8,428件がヒットした。これらの成分のオリジネーター国籍は図1に示したとおり、多い順に米国、中国、日本、

図1 オリジネーター国籍別の開発パイプライン数



出所：Pharmaprojects[®] | Citeline, 2025 (2025年7月時点)
をもとに医薬産業政策研究所にて作成

イギリス、スイス、ドイツ、フランス、韓国となった。日本は開発段階のパイプライン数では3位であったが、1位2位の米国中国との差は2,000成分以上と大きく離されていた。

図2には、図1のオリジネーター国籍別パイプラインを最も進んだ開発フェーズで分類し、各国のパイプライン数に占める割合を示した。Phase 1から申請段階までの各開発フェーズが占める割合については、オリジネーター国籍毎の差は小さく、日本についてはPhase 1が38%、Phase 2が43%、Phase 3が15%、申請段階が4%であり、他国も類似する分布を示した。

6) Pharmaprojects[®]内の以下のパラメータを使用した。オリジネーター企業の本社国籍：“Company HQ(かつ、“Originator”を指定)”

7) 開発パイプラインは下記の条件で抽出した。まず“Global Status”からPhase I Clinical Trial, Phase II Clinical Trial, Phase III Clinical Trial, Pre-registration, Registeredを選択した。このうち“Drug Country”としてUSA, Japan, China, Europeを表示し、いずれの地域でもPhase I Clinical Trial, Phase II Clinical Trial, Phase III Clinical Trial, Pre-registration, Registeredに該当しない成分は除外した。

8) モダリティの分類にはPharmaprojects[®]内の“Drug Type”を使用した。“Biological”に分類される成分については、以下の通りPharmaprojects[®]内のパラメータをもとに再集計した。

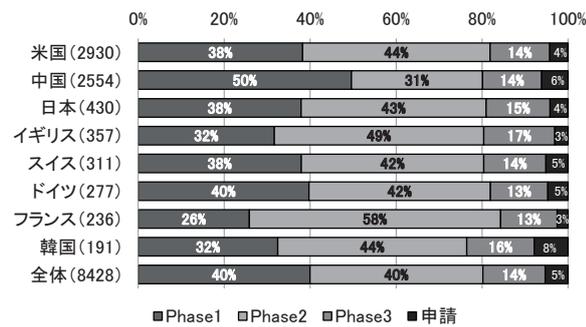
- ・抗体 ADC：“Antibody”に分類される成分
- ・細胞、遺伝子治療：Cellular”、“Gene therapy”、“Gene delivery vector”に分類される成分
- ・Peptide, 抗体以外のProtein：“Peptide”、“Protein (Antibodyを除く)”に分類される成分
- ・核酸：“Nucleic Acid”に分類される成分
- ・Vaccine：“Vaccine”に分類される成分
- ・Biosimilar：“Biosimilar”に分類される成分
- ・Biological その他：上記以外で“Biological”に分類される成分

9) 対象疾患の分類にはPharmaprojects[®]内の“Drug Disease”を使用した。

10) Pharmaprojects[®]から上市済みの成分として“Global Status”が“Launched”または“Withdrawn”を抽出し、これらの成分に紐づくPharmaprojects[®]内のパラメータ“Target”を抽出した。3-3で抽出した開発パイプラインの“Target”について、上市済み成分の“Target”と完全一致しない成分を“未上市Target”として集計した。

なお、“Target”の事例としては、“5-hydroxytryptamine receptor 1A”や“programmed cell death 1”など各成分の標的部位が特定されている場合に情報が付与されている。

図2 オリジネーター国籍別開発パイプライン数に占める各開発フェーズの割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025 (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 注：縦軸カッコ内は当該国に本社を置く企業を由来とする開発パイプライン数

3-2. オリジネーター国籍別パイプライン数に占める開発実施地域の割合

図1のオリジネーター国籍別パイプラインについて、開発実施地域別で分類し図3に示した。なお、本稿で取り扱う開発パイプラインは複数地域で開発されている成分が多い。本稿では開発実施地域の分類として、①米国または米国を含む複数地域、②中国のみ、③欧州のみ、④日本のみ、⑤その他（日本と欧州、中国と欧州、日本と中国、日本・欧州・中国、の複数地域）の5種類とした。

その結果、全体の55.5%（4,681成分）が米国または米国を含む複数地域で開発されており、27.9%

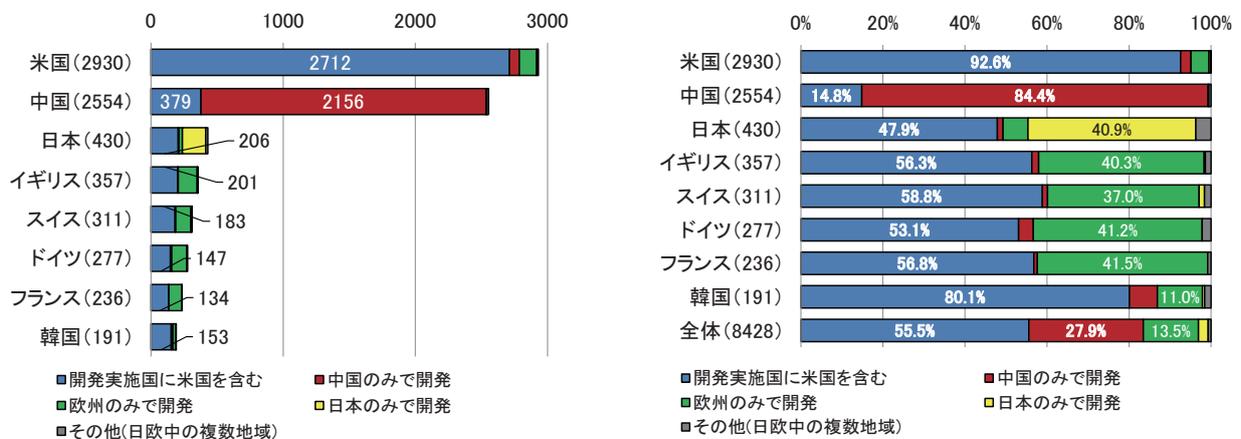
（2,353成分）は中国のみで開発されていた。オリジネーター国籍が中国となる開発パイプラインは84.4%（2,156成分）が中国のみで開発される成分であったが、他の国では米国または米国を含む複数地域で開発される成分がそれぞれ最大の割合を占めており、日本国籍企業由来の開発パイプライン（以下、日本由来品）についても47.9%（206成分）は米国または米国を含む複数地域で開発されていた。

3-1に示したとおり、開発パイプライン全体では中国国籍企業由来品（以下、中国由来品）が米国国籍企業由来品（以下、米国由来品）と同程度の数であったが、図3のとおり中国由来品の多くが中国のみでの開発であると考えられた。一方で、日米欧の企業を由来とするグローバル開発品目の多くが米国または米国を含む複数地域にて開発されると考えられたため、以降では開発実施地域に米国を含む成分について分析することとした。

3-3. 米国における開発パイプライン数

米国または米国を含む複数地域で開発される4,681成分に限定した場合、これらのオリジネーター国籍は図4に示したとおり、パイプライン数が多い順に米国、中国、日本、イギリス、スイス、韓国、ドイツ、フランスとなった。上位国の順位は3-1の結果と類似していたが、1位の米国と2位

図3 オリジネーター国籍別開発パイプライン数に占める各開発実施地域別の数及び割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025 (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成
 注：縦軸カッコ内は当該国に本社を置く企業を由来とする開発パイプライン数

左) 各開発実施地域別のパイプライン数、右) オリジネーター国籍別開発パイプライン数に占める各開発実施地域別パイプライン数の割合

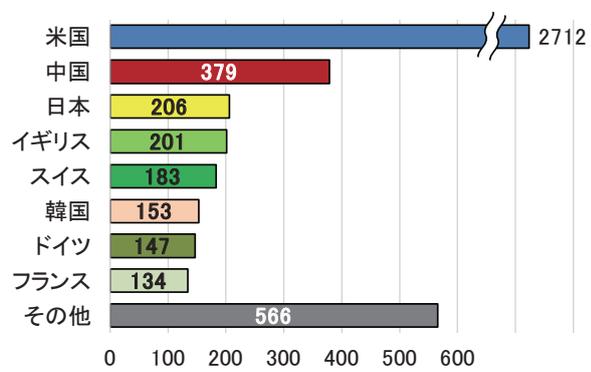
中国の差は大きく、日本を含む3位以降の国と中国との差は小さくなった。

図5には、図4のオリジネーター国籍別パイプラインを最も進んだ開発フェーズで分類し、各国のパイプライン数に占める各開発フェーズの割合を示した。3-1での分析と同様、Phase 1から申請段階までの各開発フェーズの占める割合については、Phase 1の占める割合が米国と中国で若干多くフランスで若干少ない、など国別に多少の違いはあるものの、極端に他と分布が異なる国はなかった。

3-4. 米国開発パイプラインに占める各モダリティの占める割合

図4のオリジネーター国籍別の米国開発パイプラインについて、モダリティ別に分類し図6に示した。解析対象の約6割を占める米国由来品では、低分子が38%、抗体またはADCが15%、細胞治療、遺伝子治療などが16%となったが、これに対

図4 オリジネーター国籍別の開発パイプライン数（開発実施地域に米国を含む）



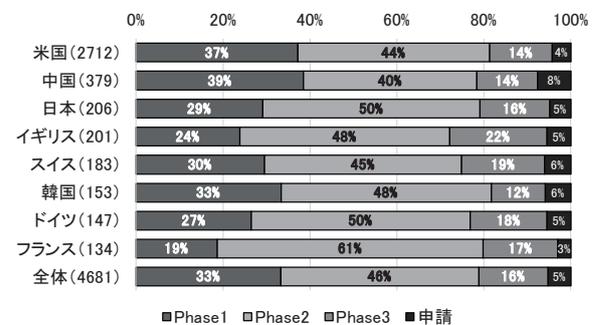
出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025（2025年7月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成

して日本由来品では低分子が62%と多い点が特徴的であった。各モダリティの占める割合は各国で特徴があり、例えば中国由来品では米国由来品に比べて低分子、抗体またはADCの割合が高く、ドイツでは核酸の割合が20%と高かった。なお、イギリス及び韓国は米国と、スイスは中国と類似していた。

3-5. 米国開発パイプラインに占める各対象疾患の占める割合

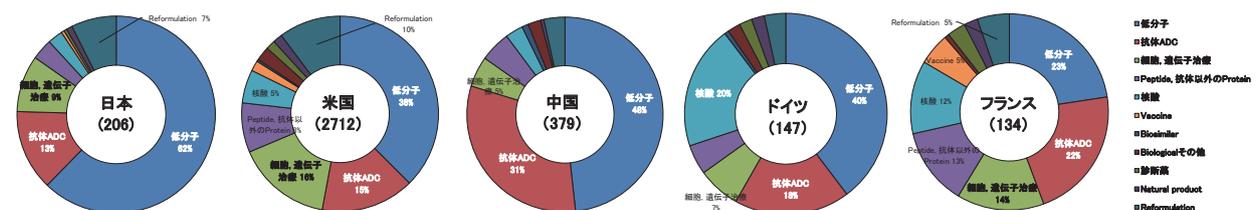
図4のオリジネーター国籍別の米国開発パイプラインについて、対象疾患別に分類し図7に示した。解析対象の約6割を占める米国由来品では、Anticancer（以下、抗がん剤）が35%、Neurological（以下、神経疾患）が15%、Anti-infective（以下、感染症）が9%、Alimentary/Metabolic（以下、栄養/代謝関連）が8%となった。これに対して日本由来品では抗がん剤34%、神経疾患が

図5 オリジネーター国籍別開発パイプライン数に占める各開発フェーズの割合（開発実施地域に米国を含む）



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025（2025年7月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成
注：縦軸カッコ内は当該国に本社を置く企業を由来とする米国開発パイプライン数

図6 米国開発パイプラインに占める各モダリティの割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025（2025年7月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成
注：カッコ内は当該国に本社を置く企業を由来とする米国開発パイプライン数

24%、感染症6%、栄養／代謝関連が7%、Sensory（以下、感覚器）が7%となり、神経疾患と感覚器に対するパイプラインが多い点が特徴的であった。各対象疾患の占める割合にも各国で特徴があり、例えば中国由来品では抗がん剤の割合が60%と突出して高く、イギリスでは感染症の割合が16%と他国に比べて高かった。なお、ドイツ及びフランスはイギリスと、韓国は米国と類似していた。

3-6. 各国のパイプラインに占める“未上市Target”となる成分の割合

図7のオリジネーター国籍別・対象疾患別の米国開発パイプラインについて、Pharmaprojects®から“Target”として記載された情報を抽出し、上市済み成分のTargetと一致しないTargetを持つパイプラインを集計して“未上市Target”と定義した¹⁰⁾。未上市Targetに該当する成分はFirst

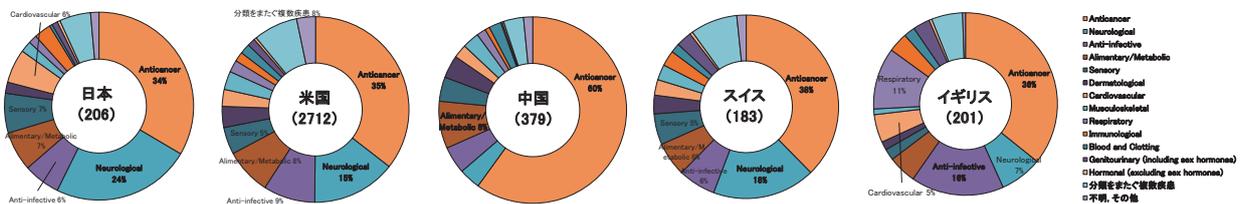
in class の製品として承認される可能性があると考えられ、このようなパイプラインをオリジネーター国籍別と対象疾患別(抗がん剤及び神経疾患)に集計し、図8に示した。

その結果、未上市Targetに該当する米国開発パイプライン数は米国由来が圧倒的に多かったが、各国由来のパイプライン数における未上市Targetの占める割合を見ると日本や欧州も米国に比肩する値となった(日本46%)。日本は神経疾患分野で未上市Targetのパイプライン数が米国に次いで多く、また未上市Targetのパイプライン数が他国より少ない抗がん剤についても割合としては他国と同水準であった。

4. まとめ・考察

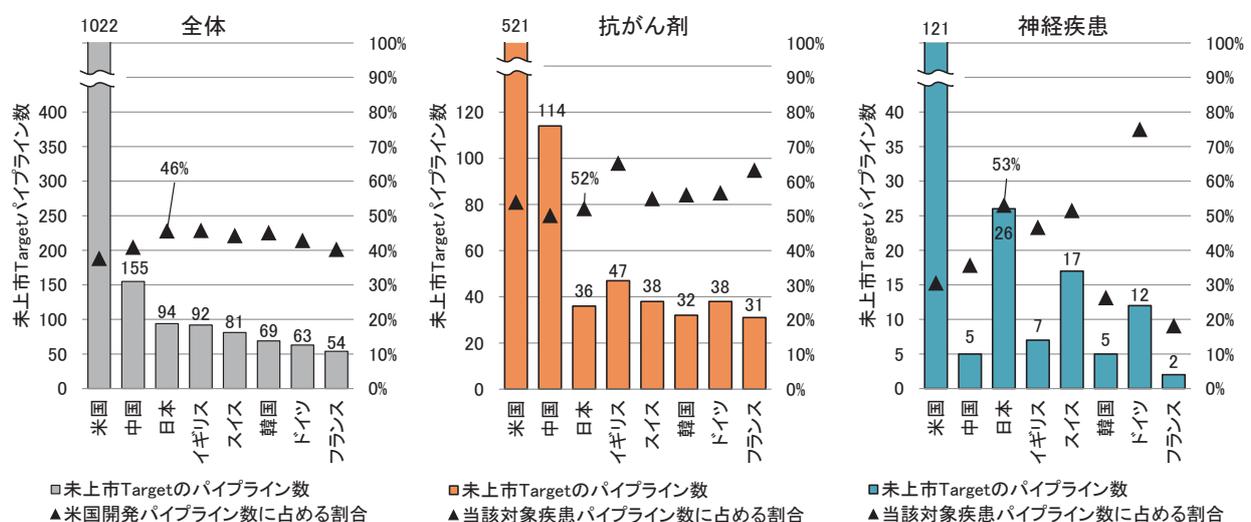
本稿では、Citeline社のデータベース(Pharmaprojects®)を用いて、オリジネーター企業の本社国籍別に開発パイプライン数を調査した。ま

図7 米国開発パイプラインに占める各対象疾患の割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025 (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成
注：カッコ内は当該国に本社を置く企業を由来とする米国開発パイプライン数

図8 米国開発パイプラインにおける未上市Targetの占める割合



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025 (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

た、最大の創薬国である米国で開発されているパイプライン数については、モダリティ、対象疾患別にも調査を行った。

まず全体的な特徴としては3-1に示したとおり、オリジネーター国籍別の開発パイプライン数は多い順に米国、中国、日本、イギリス、スイス、ドイツ、フランス、韓国であった。日本は三番手であったが、上位2か国の米国及び中国由来のパイプライン数と大きく差があった。近年各種文献で言われているように中国の研究力はヘルスケア分野も含め大きく伸長しており¹¹⁾、本稿の調査結果からも中国の創薬が活発になっている様子があらわれていた。開発フェーズ別のパイプライン数としては中国由来品で若干 Phase 1 の比率が高かったものの国別に大きな差は認められず、図2及び図5において申請段階に至ったパイプラインも認められ、また図8に示すように米国開発パイプラインに占める未上市 Target の占める割合も先進各国に比肩する水準になっていることから、中国由来のパイプラインも日米欧由来のパイプライン同様に後期開発へ進められていると考えられた。なお、Citeline 社の年次報告書⁵⁾で前臨床段階を含むパイプライン数が示されたが、そこでは韓国が中国に次いで3番手に位置づくほどパイプライン数が多いとのことであった。本稿の図1は、臨床入り以降のパイプラインかつ開発実施地域が日米欧及び中国に限定して分析したため韓国は8番手となったが、開発実施地域を日米欧及び中国に限定しない場合には韓国のパイプライン数は700前後となり、日本より多かった。本稿では韓国についてこれ以上言及しないが、中国とともにアジア地域の創薬の活発化を示すものであると考えられる。

3-2で示した開発実施地域の分布については、日米欧及び韓国では米国に次ぎ欧州または日本での開発が多い一方で、中国だけは中国のみで開発されるパイプラインが突出して多いという特徴がみられた。中国由来のパイプラインの多くは中国国内

市場を志向して開発されていると考えられ、多くの日本企業の従来のグローバル戦略とは異なるため、以降の解析では開発実施地域に米国が含まれるパイプラインに限定して調査することとした。なお、3-3で示した米国開発パイプラインに限定した場合も、3位の日本との差は小さくなるもののオリジネーター国籍別パイプライン数は中国が2位であった。中国由来品についても競合国として視野に入れるべきと考え、本稿では日本との比較対象には中国を含む上位国（米国、中国、イギリス、スイス、ドイツ、フランス、韓国）の解析結果を示した。3-4及び3-5では、各国由来のパイプラインについてモダリティと対象疾患の割合を示した。なお、本稿では3-3で示した米国または米国を含む複数地域の開発パイプラインに限定し国別の特徴について考察したが、参考までに開発実施地域が日本、米国、欧州及び中国となる日本由来の開発パイプライン430成分のモダリティと対象疾患の割合を補足で示した。

3-4に示した米国開発パイプラインに占める各モダリティの割合について、日本由来品は他国と比べて低分子の占める割合が6割超と多い点が特徴的であった。一方で抗体またはADCの割合は13%であり今回集計したオリジネーター国籍別では最小の割合であった。また、細胞、遺伝子治療の占める割合は9%と3番目に多いが、パイプライン数としては米国、イギリスについて日本、中国、韓国、フランスが同等の水準で3位となり、割合としてもパイプライン数としても他国に比べて多いという状況ではなかった。3-6で示した米国開発パイプラインにおける未上市 Target において、各モダリティの占める割合は低分子が42.3%、抗体またはADCが26.7%、次いで細胞、遺伝子治療の占める割合が10.3%であり、新規の標的部位を指向した開発パイプラインとしては低分子医薬品が依然として多かった。特に日本由来の米国開発パイプラインにおける未上市 Target では、低分子の占める割合が71.3%であった（図表掲載な

11) Nature index 2025 Research Leaders, <https://www.nature.com/nature-index/research-leaders/2025/> (参照：2025/09/30)

し)。このように日本由来の開発パイプラインには低分子が多く含まれ、また未上市 Target の占める割合も多かった。バイオ医薬品の開発パイプライン数を増加させるために日本全体としての適切な支援が重要である一方で、低分子の開発プロジェクトへの継続的な支援も日本の創薬力向上のためには必要であると考えられる。

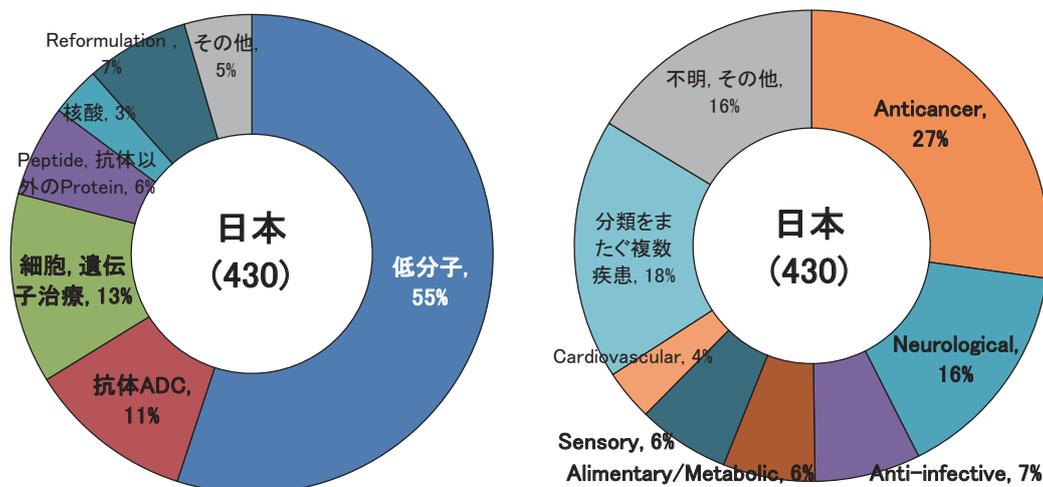
3-5に示した米国開発パイプラインに占める各対象疾患の割合について、日本では抗がん剤、神経疾患、栄養／代謝関連、感覚器、感染症の順に多く、神経疾患の割合が他国より大きく特徴的であり、パイプライン数としても米国に次いで多かった。また、3-6で示したとおり米国開発パイプライン数に占める未上市 Target の割合は各国同程度であったが、中でも日本、イギリス、スイス、韓国で割合が高かった。日本をはじめ、これらの国で新規メカニズムの新薬開発への挑戦に注力している状況が反映されたものと考えられた。日本由来品について、抗がん剤の米国開発パイプライン数全体及びそのうちの未上市 Target のパイプライン数は競合する他国よりも少ないものの、未上市 Target の占める割合は他国と比肩するもの

であった。また神経疾患については、米国開発パイプラインにおける未上市 Target のパイプライン数が米国に次いで多かった。この状況は日本の特徴であると言えるが、日本の創薬力の強みとして育つよう、また抗がん剤ほかとともに日本由来品から First in class の医薬品が多数生み出されるよう、各企業による確実な開発の推進に加えて、先進的な研究推進に対する適切な支援がなされることが期待される。

5. おわりに

本稿は2025年7月時点での主要創薬国の開発パイプライン数について俯瞰したものである。中国の創薬競合国としての存在感が非常に大きくなっている点が印象的であった。またこの中でも日本は3位につけており、モダリティにおいても対象疾患についても他国と異なる特徴が見てとれ、また新規メカニズムを目指した開発も競合他国に比肩して進められていた。より一層の創薬力の向上につながるよう、日本全体として創薬研究に対して適切な投資がなされるとともに、各パイプラインで開発が着実に進められることを期待する。

補足：日本国籍企業由来の開発パイプラインに占めるモダリティ及び対象疾患の割合
(開発実施地域：日本、米国、欧州、中国)



出所：Pharmaprojects® | Citeline, 2025 (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成
左) モダリティ別の割合 右) 対象疾患別の割合

前臨床段階への提携・買収実態調査

－日本と他国の比較－

医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔
医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦知絵

要約

- 2010年1月～2025年3月に世界各国の企業、組織が行った前臨床段階にある候補物質への取引・提携・買収（以下、前臨床提携・買収）の実態を調査した。
- Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）を用いて抽出した、世界各国が行った前臨床提携・買収数は1,202件であった。そのうち日本は77件、シェア6%で3番目に多く、日本の前臨床提携・買収数は世界の中でも高い水準であった。
- オリジネーターを見ると、米国が実施した前臨床提携・買収のうち、アカデミアの割合は24%であり日本の10%と比べ約2.5倍高かった。ただし、各国ともアカデミアへの前臨床提携・買収は近年減少しており、日本の前臨床提携・買収は2018年以降EBPに特化し、アカデミアに対してはほぼ無かった。
- モダリティを見ると、各国ともに Small molecules chemistry に対する前臨床提携・買収の割合は最も高かった（40～44%）。また、日本の Gene therapy、Cell therapy の割合はそれぞれ9%、8%であり米国の6%、3%、その他6か国合計の1%、2%と比べ割合が高かった。

- 薬効分類を見ると、日本が実施した前臨床提携・買収は Central Nervous System（以下、CNS）への割合が22%で最も高く、他国の約15%と比べても高値だった。一方で、Oncologyの割合は21%で日本国内では2番目に多いが、他国の40%以上と比べると低かった。これらの傾向は日本の特徴と言える。

1. はじめに

2023年10月の医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No.81「アカデミア・創薬ベンチャー・製薬企業を中心とする共創型創薬の実態と展望」（高砂）では、実用化に向けた創薬において、アカデミアのみならず Emerging Biopharma（以下、EBP）が重要な役割を担っていること、先行する米国ではEBP由来候補物質の開発が活発であること、そこで生まれた前臨床段階の候補物質に対して、ライセンス導入やアセット取得といった提携や買収等が数多く実施されていることが報告されている¹⁾。

革新的医薬品創出に向けては、多くの企業が前臨床段階にある候補物質確保の重要性を認識している^{2、3)}。そして多くの候補物質が自社開発のみならず、提携・買収により他社から取得されてい

1) 医薬産業政策研究所「アカデミア・創薬ベンチャー・製薬企業を中心とする共創型創薬の実態と展望」リサーチペーパー・シリーズ No.81（2023年10月）
2) Roberto Antolović, Dubravko Jelić & Darko Marković, “Preclinical Research in Drug Discovery”, pp 13–28 First Online : 09 February 2025, https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-031-69800-2_2（参照：2025/09/24）
3) Shobha N. Bhattachar, David M. Bender, Stephanie A. Sweetana & James A. Wesley, “Discovery Formulations : Approaches and Practices in Early Preclinical Development”, pp 49–94, First online : 01 January 2014

る⁴⁾。

本調査では2010年1月～2025年3月に各国の企業、組織が実施した前臨床段階にある候補物質への取引・提携・買収（以下、前臨床提携・買収）に着目し、日本の傾向をいくつかの項目を通じて分析する。また、日本が実施した前臨床提携・買収を他国が行った前臨床提携・買収と比較し、日本や他国の特徴を明示する。

2024年の創薬エコシステムサミットにて、「日本を世界に貢献できる創薬の地にする」との目標が掲げられ⁵⁾、目標達成に向け、官民をあげて様々な手段が講じられている^{6、7)}。そこで、アカデミア研究⁸⁾やバイオ医薬品開発⁹⁾に対する政策について、前臨床提携・買収の実態と照らし考察を加える。

2. 調査方法

調査対象はEvaluate社Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）より抽出した世界各国の企業、組織が2010年1月～2025年3月の期間に実施した前臨床段階への提携・買収1,202件のうち、上位8か国（件数の多い順に米国、英国、日本、スイス、中国、フランス、ドイツ、韓国）が行った1,013件とした。前臨床提携・買収案件にはEvaluate社Evaluate Pharma[®]の定義により、「ライセンス導入」「企業買収」「ジョイントベンチャー」「製品導入」「自社候補物質の外部との共同開発や自社ライセンス品と他社ライセンス品のコンビネーション等」が含まれる。

この1,013件は新規有効成分含有医薬品（New Molecular Entity：以下、NME）に該当する候補物質に対して行われた前臨床提携・買収であり、調

査期間中に実施され、かつ提携・買収を実施する企業、組織が有するマーケティング権が米国もしくは米国を含む世界規模の前臨床提携・買収である。一方で、例えば完全な自社開発品のように、前臨床提携・買収が行われていない候補物質については情報が得られないため調査対象から除外した。

また、1,013件には上場企業のみならず非上場企業によって実施された前臨床提携・買収も含まれている。しかしながら、2025年3月時点で前臨床提携・買収の情報が公開されている場合に限りEvaluate社Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）に掲載されるため、情報が公表されておらず掲載できない前臨床提携・買収については対象外であることを本調査のリミテーションとする。

前臨床提携・買収後に開発中止、中断、譲渡などの非継続案件については複数の情報が欠落するため調査対象からは除外し、2025年3月時点で開発が進行中もしくはすでに申請、承認、上市に至っている候補物質に対する前臨床提携・買収を採用した。

前臨床提携・買収後の開発ステージは2025年3月時点の情報を採用した。加えて、複数の効能取得目的等により、1つの候補物質に対して複数回の提携・買収が行われている場合は、2025年3月時点で世界での開発ステージが最も進んでいる提携・買収のみ採用し1候補物質あたり1提携・買収として集計した。

調査対象国は前臨床提携・買収数の多い順に米国、英国、日本、スイス、中国、フランス、ドイツ、韓国（計1,013件）とした。また、日本を他国と比較する際は、提携・買収件数の多い米国を独立させ、日本、米国、その他6か国の3つに分け

4) 医薬産業政策研究所「日本の大手製薬企業のパイプライン分析～自社オリジンと外部導入の比較～」政策研ニュース No.69（2023年7月）

5) 総理の一日（2024年7月30日）、創薬エコシステムサミット」、首相官邸、https://www.kantei.go.jp/jp/101_kishida/actions/202407/30souyaku.html（参照：2025/09/24）

6) 創薬エコシステム発展支援事業、厚生労働省、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_61159.html（参照：2025/09/24）

7) 内閣官房健康・医療戦略室、「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」、内閣官房、<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/index.html>（参照：2025/09/24）

8) 健康・医療戦略推進本部、「令和7年度予算（案）における統合プロジェクトの概要」、首相官邸、https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryoku/siryoku/pdf/r061227_projectgaiyou.pdf（参照：2025/09/24）

9) 「バイオベンチャーへの支援」、経済産業省、https://www.meti.go.jp/policy/mono_info_service/mono/bio/Bioventure/index.html（参照：2025/09/24）

て検討した。

提携・買収の対象であるオリジネーターについては、Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）に掲載されている分類を使用した。また、オリジネーターについては医療機関、研究機関、公的機関をアカデミアとして、Biotechnology、SpecialtyをEBPとしてまとめた。

Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）が規定するモダリティのMonoclonal antibodyにはMultiple antibody（以下、msAb）、Antibody Drug Conjugate（以下、ADC）も含まれる。

なお、本稿ではEvaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）で使用されている各種指標や分類を用いる際は英語表記している。

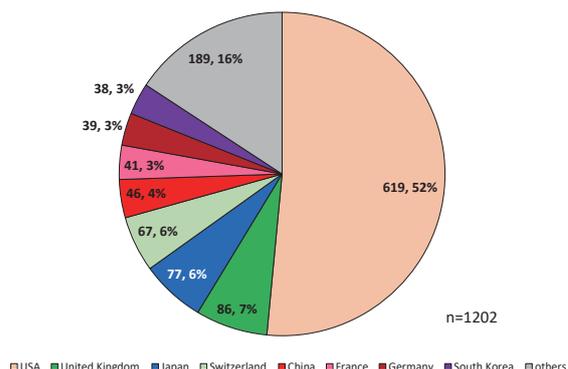
3. 結果

3-1. 各国の前臨床提携・買収数と国別割合

Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）より得られた2010年1月～2025年3月に世界各国が行った前臨床提携・買収数は1,202件であり、日本は77件、シェア6%で3番目に多く、日本の前臨床提携・買収数は世界の中でも高い水準であった。1位の米国は619件で全体の52%を占めた（図1）。

前臨床提携・買収の種類は「ライセンス導入」「企業買収」「ジョイントベンチャー」「製品導入」「自社候補物質の外部との共同開発や自社ライセンス品と他社ライセンス品のコンビネーション

図1 国別の前臨床提携・買収



出所：Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

等」であり、ライセンス導入が全体の約70%を占めた（表1）。

3-2. オリジネーターから見た各国の前臨床提携・買収実施対象

前臨床提携・買収の対象であるオリジネーター別に見ると、日本では全体の75%がEBPに対する前臨床提携・買収であった（図2）。前臨床提携・買収の対象としてEBPが最も多い状況は、日本、米国、その他6か国とも同様であり、共通の傾向であった。なお、上位8か国による前臨床提携・買収の対象となったEBPの国籍を見ると、米国が49%で最も多く（349/708件）、次いで中国、英国、韓国、フランスとなっていた。日本国籍のEBPは29件4%で、スイスと同率の6番目であった（図3）。

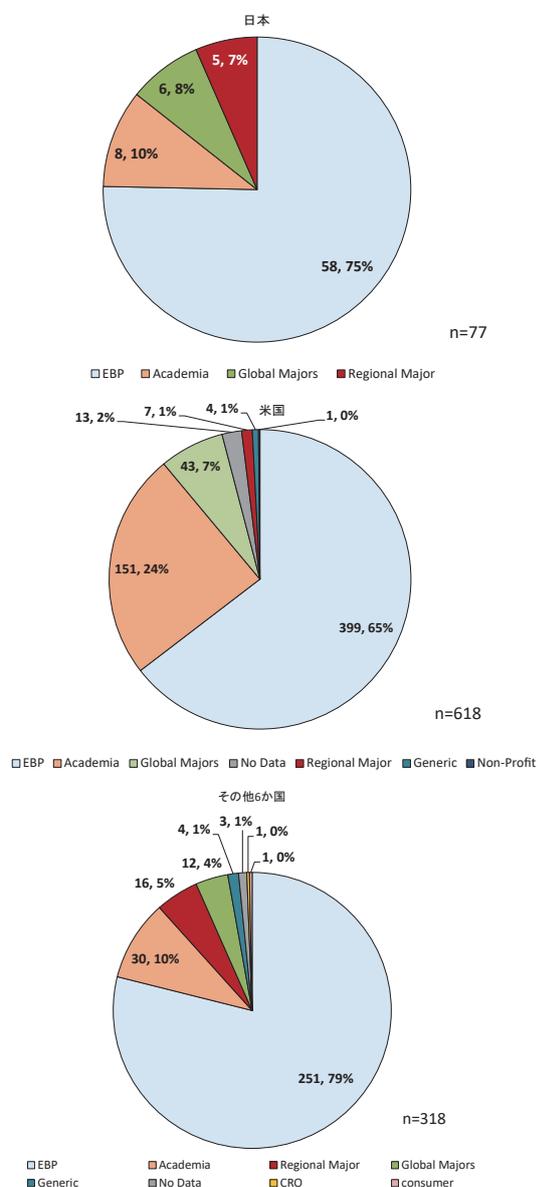
表1 上位8か国の前臨床提携・買収の種類

国籍	ライセンス導入	企業買収	ジョイントベンチャー	製品導入	その他	総計
米国	424	64	17	29	84	618
英国	63	9	2	1	11	86
日本	48	9	10	1	9	77
スイス	48	7	0	3	9	67
中国	38	0	5	0	4	47
フランス	28	1	4	0	8	41
ドイツ	24	3	1	2	9	39
韓国	28	0	5	0	5	38
計	701	93	44	36	139	1,013

出所：Evaluate社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

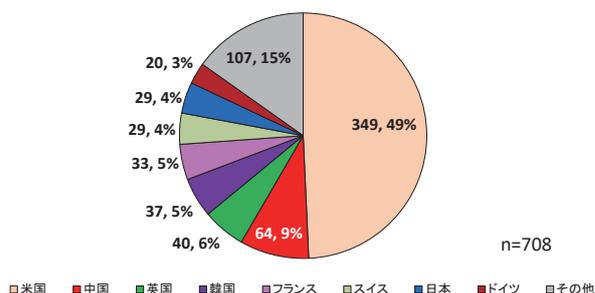
日本では全体の10%がアカデミアに対する前臨床提携・買収であり、EBPに次ぐ順位であった。この割合はその他6か国と同程度だが、米国は24%と日本の約2.5倍の割合であり、米国の特徴の一つと言える(図2)。なお、上位8か国による前臨床提携・買収の対象となったアカデミアの国籍を見ると、米国が73% (138/189件)と大部分を占めており、次いで英国、フランス、日本となっていた。アカデミアへの前臨床提携・買収については、実施主体の国籍、提携・買収の対象の国籍、いずれも米国が多い結果となった(図4)。

図2 各国のオリジネーター別前臨床提携・買収



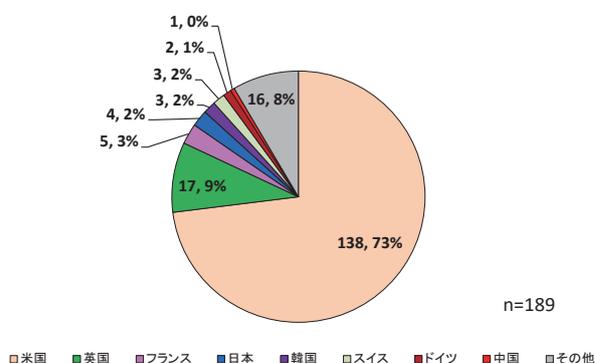
出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®] (2025年3月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 上位8か国による前臨床提携・買収対象であるEBPの国籍



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®] (2025年3月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図4 上位8か国による前臨床提携・買収対象であるアカデミアの国籍



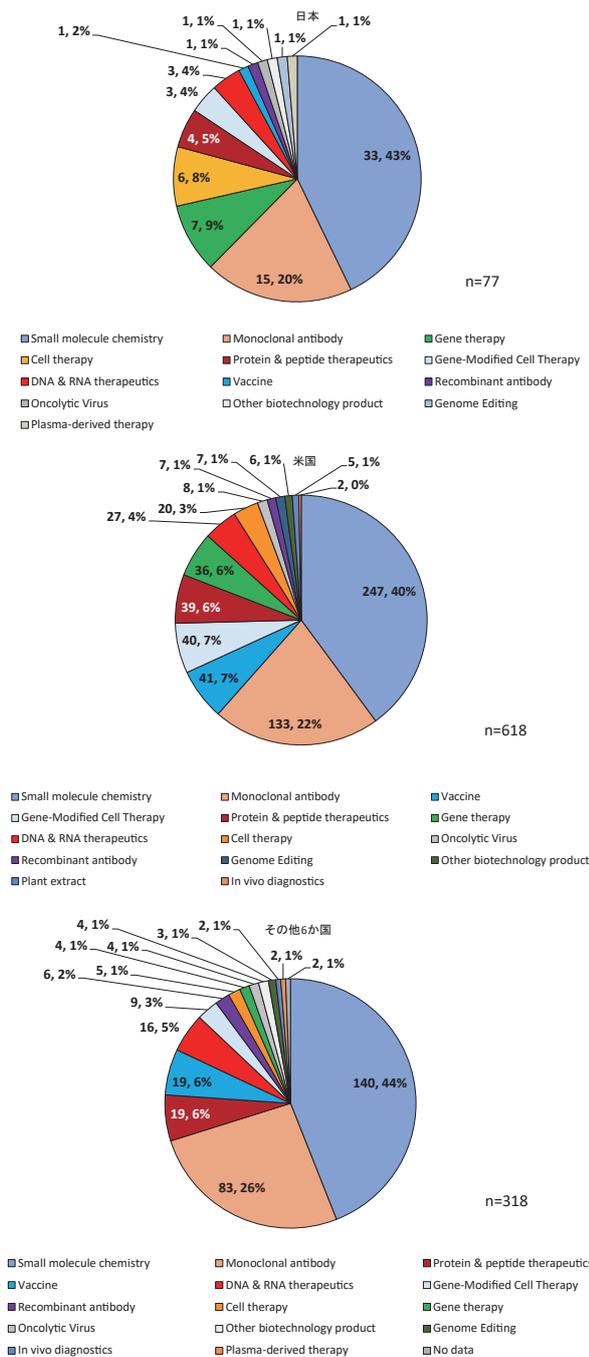
出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®] (2025年3月時点)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3-3. モダリティから見た各国の前臨床提携・買収実施対象

前臨床提携・買収の対象であるモダリティを見ると、日本、米国、その他6か国とも Small molecule chemistry、Monoclonal antibody (msAb、ADC含む)の順で多く、その2つのモダリティがすべての前臨床提携・買収の60%以上を占め、各国で共通の傾向を示した(図5)。すべての前臨床提携・買収(3位、8% = 77/1,013)と同様、Small molecules chemistryに関する前臨床提携・買収でも、日本は8か国中2位(8% = 33/420)と上位に位置しており、他国と同様、Small molecules chemistryは日本の企業、組織においても前臨床提携・買収で注力するモダリティであることが分かった(図6)。

また、日本の Gene therapy、Cell therapy の割

図5 各国のモダリティ別前臨床提携・買収

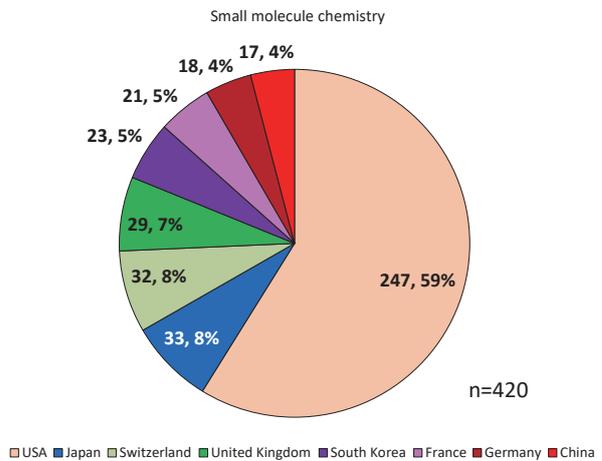


出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma® (2025年3月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

合はそれぞれ9%、8%であり、米国の6%、3%、その他6か国の1%、2%と比べ割合が高かった(図5)。

他国の特徴としては、Vaccineが米国7%、その他6か国が6%と日本の2%と比べ高い割合を示していた。

図6 前臨床提携・買収対象である Small molecules chemistry の国別割合 (上位8か国)



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma® (2025年3月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3-4. 薬効分類から見た各国の前臨床提携・買収実施対象

前臨床提携・買収の対象となった薬効分類を見ると、米国、その他6か国で最も多い前臨床提携・買収はOncologyであった。割合は米国40%、その他6か国45%であり、日本の21%と比べ約2倍であった。

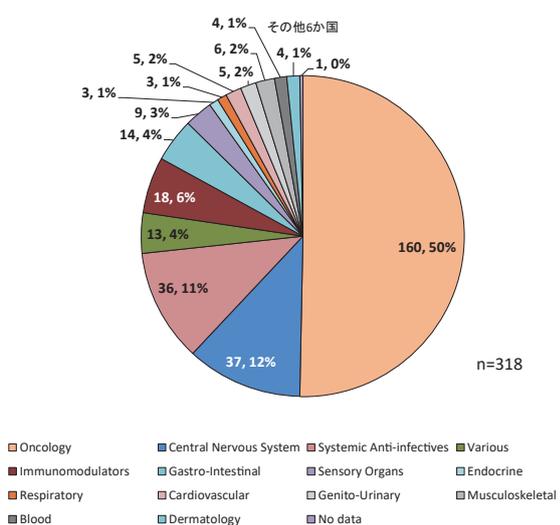
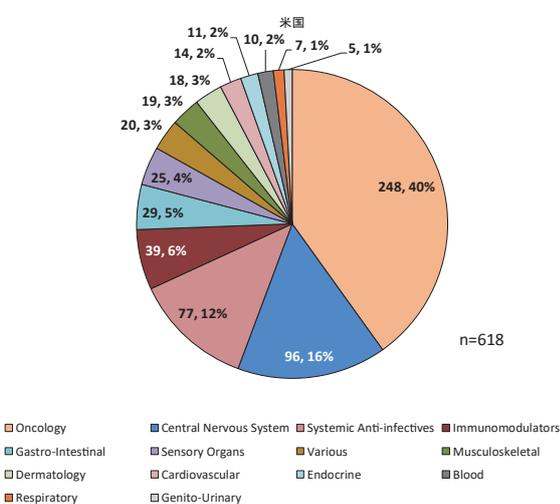
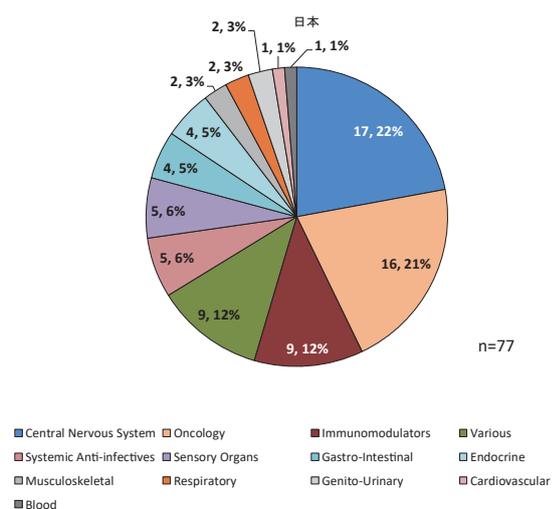
日本の最も多い前臨床提携・買収の対象はCNSで、割合は22%と他国の12~16%と比べても高値だった。他国と比べてCNSの割合が高く、Oncologyの割合が低い傾向は日本の特徴と考えられた。

加えて、日本でのimmunomodulatorは12%と他国(6%)と比べ高い割合であった。一方、Systemic anti-infectivesの6%は他国(10~12%)と比べ低い割合だった(図7)。

3-5. モダリティから見た前臨床提携・買収後の開発ステージ状況

前臨床提携・買収後に、2025年3月時点の開発ステージが臨床ステージへ移行していた提携・買収(以下、臨床移行)と前臨床ステージを継続していた提携・買収(以下、前臨床継続)について調査し、特徴の見られたモダリティについて言及する。Small molecules chemistryにおける前臨床提携・買収後に臨床移行した比率は、前臨床継続を1とすると、日本0.83、米国0.73、その他6か国

図7 各国の薬効分類別前臨床提携・買収



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma® (2025年3月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

0.71であり、日本での臨床移行率がやや高い傾向であった。Monoclonal antibody (msAb、ADC含む) においては、日本0.36、米国1.05、その他6か

国0.91であり、日本での臨床移行率が低い傾向であった。これらの数値が実施された前臨床提携・買収の優劣を直接的に示すわけではないが、日本と他国とで乖離のある数値であった(図8)。

3-6. オリジネーターから見た前臨床提携・買収の実施対象と経年推移

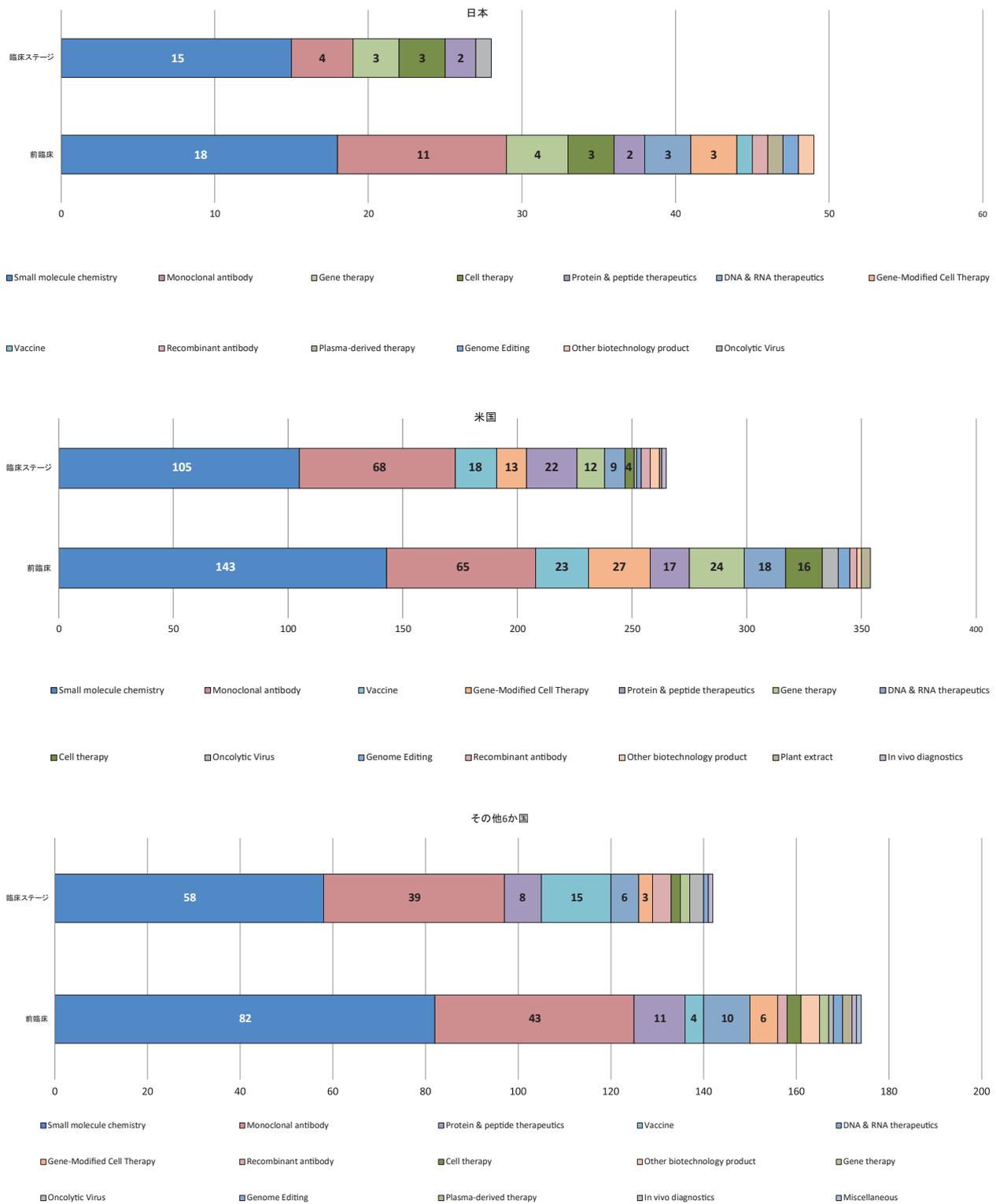
各国の企業、組織が実施した前臨床提携・買収の対象と経年推移を見ると、上位8か国のうち、日本以外の国々は2021～2022年に前臨床提携・買収数がピークとなっていた。一方、日本は、年によっては少ない年もあるものの、調査期間を通して緩やかな増加傾向を示していた。ただし、2012年および2025年1月～3月の期間では、前臨床提携・買収は実施されていない(図9、10、11)。

2010年1月～2025年3月までの前臨床提携・買収についてオリジネーターの経年推移を見ると、各国とも2018年前後からEBPへの前臨床提携・買収を増加させており、現在でもEBPの数が最も多くなっていた。日本においては2018年以降、そのほとんどがEBPに対して実施されている。一方、アカデミアへの前臨床提携・買収は、日本、米国、その他6か国ともに近年、顕著な減少傾向を示していた(図9)。

3-7. モダリティから見た前臨床提携・買収の実施対象と経年推移

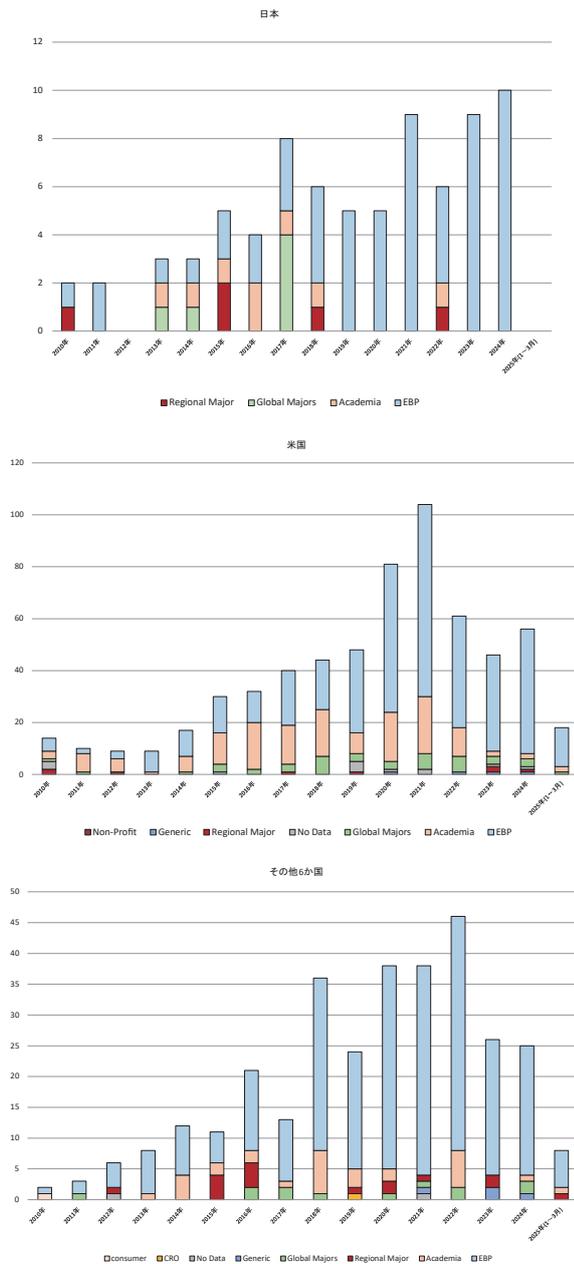
モダリティの経年推移を見ると、米国およびその他6か国ではSmall molecules chemistryとMonoclonal antibody (msAb、ADC含む)への前臨床提携・買収は2017年前後から現在に至るまで、毎年、多数実施され、併せて全体の60～71% (2017年以降、米国297/498件、その他6か国181/254件)を占めるなど割合も高かった。一方、日本はSmall molecules chemistryとMonoclonal antibody (msAb、ADC含む)が多かった年もあるものの、上記以外のモダリティで半数以上を占める年もあり、多種類のモダリティに対して前臨床提携・買収が行われるなど、その傾向は米国やその他6か国と異なっていた(図10)。

図8 各国のモダリティ別前臨床提携・買収後の開発状況



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma® (2025年3月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図9 各国のオリジネーター別経年推移

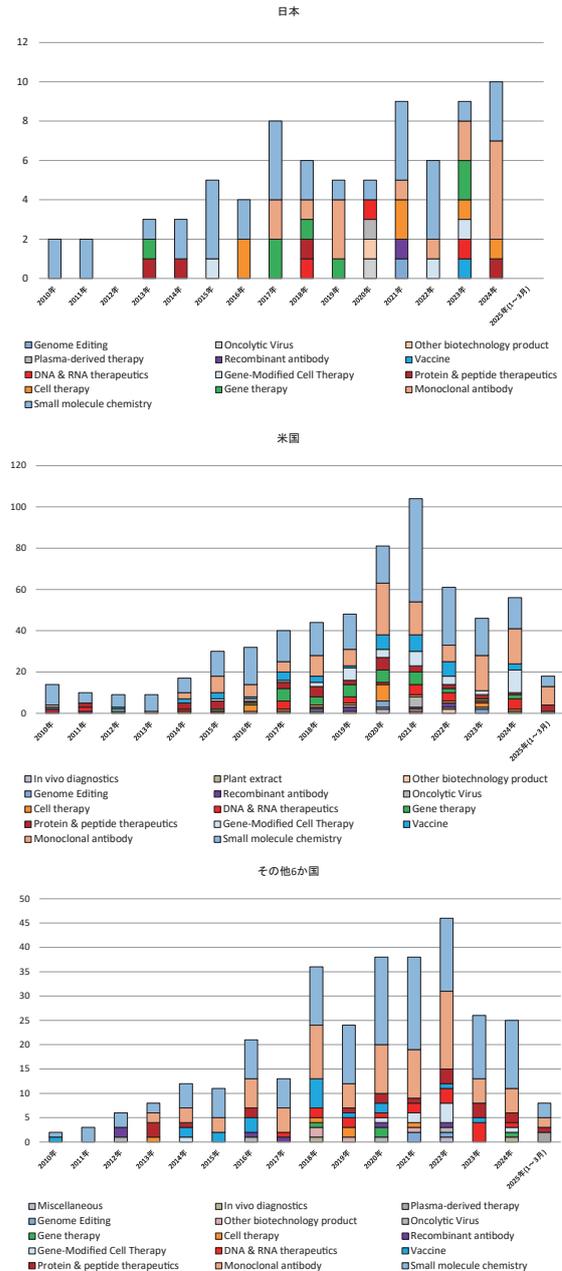


出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成

3-8. 薬効分類から見た前臨床提携・買収の実施対象と経年推移

薬効分類の経年推移について見ると、米国とその他6か国では2018年前後から Oncology に関する前臨床提携・買収が急増し、2018年以降、米国41%（187/458件）、その他6か国52%（126/241件）と他の薬効分類に比べ高い割合を維持したまま現在に至っていた。一方、日本は様々な種類の薬効分類に前臨床提携・買収が実施されており、

図10 各国のモダリティ別経年推移



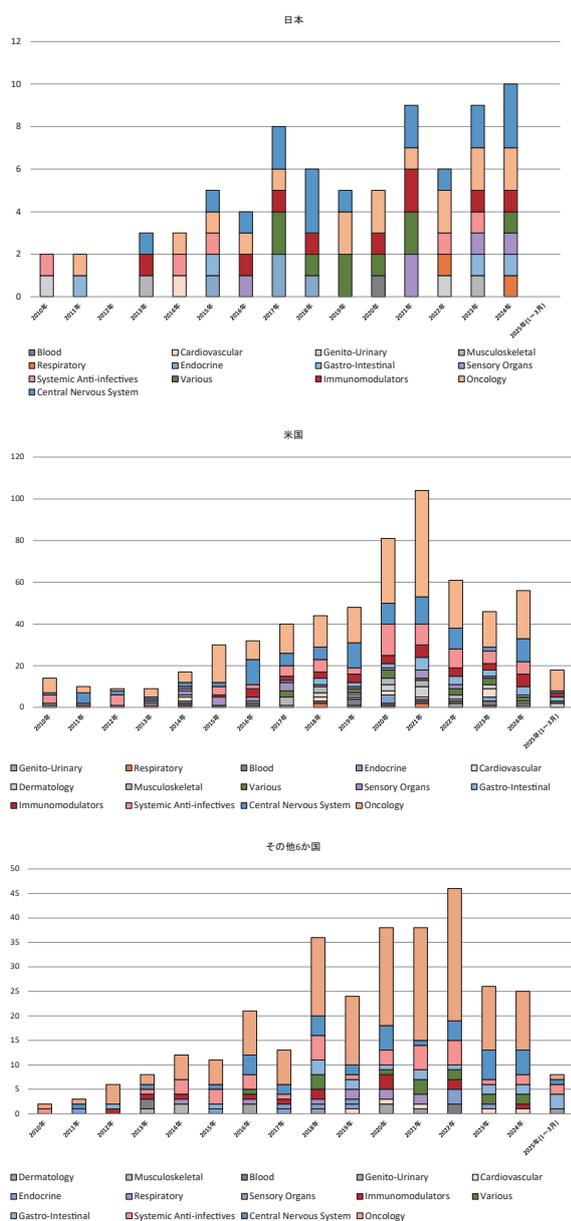
出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成

前臨床提携・買収の対象に濃淡がないのが日本の特徴であった（図11）。

4. まとめ・考察

日本の前臨床提携・買収数が2010年1月～2025年3月の期間において世界で3位であること、日本の前臨床提携・買収の推移は増加の傾向を示していることを先に述べた。また、前臨床提携・買収後の開発ステージ状況において日本と他国とで

図11 各国の薬効分類別経年推移



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma[®]（2025年3月時点）
もとに医薬産業政策研究所にて作成

乖離のある数値も見られた。本調査で確認された他国と異なる日本の前臨床提携・買収の特徴について今後の経過を見ていきたい。

日本ではオリジネーターの中でEBPへの前臨床提携・買収が最も多かった。そして近年の経年推移を見ると、ほとんどがEBPとなっていた。一方、アカデミアへの前臨床提携・買収は、ここ6

年間では44件のうち僅か1件であった。調査期間中、米国のアカデミアに対する前臨床提携・買収の割合は日本の2.5倍であったが、米国においても、ここ数年間ではアカデミアの割合は著しく減っていた。その詳細な理由については今後の研究課題とし、本稿では、医薬産業政策研究所、「米国EBP由来医薬品に関する調査－バイオ品と低分子品の比較－」ポジションペーパーNo.8（2025年7月）での調査結果と併せて考察する。

当ポジションペーパーでは、日米欧2極以上で承認された米国EBP由来医薬品の調査結果を報告した¹⁰⁾。その中で、「アカデミア単独もしくは共同出願による特許」について言及しており、バイオ医薬品の米国EBP由来品のうちアカデミア単独もしくは共同出願による特許件数は2/33件、米国の非EBP由来品では18/78件、低分子医薬品の米国EBP由来品では1/62件、米国の非EBP由来品では8/63件と少なく、日米欧2極以上で承認された米国EBP由来医薬品の特許の大部分は米国EBP単独が製薬企業により出願されていた。また、「アカデミア単独出願」されていたバイオ医薬品15件、低分子医薬品7件のうち、それぞれ11件、4件が米国EBPへライセンス導出されていた。さらに同ポジションペーパーでは米国EBP創始者のバックグラウンドにも触れており、バイオ医薬品を創出する米国EBPの63%、低分子医薬品を創出する米国EBPの42%が大学出身者により創設されていた。これらの報告は、アカデミアでの研究やアイデアがEBPや製薬企業によって磨かれて実用化することを示している。本調査結果にも該当するか調査していくとともに、減少の原因を探っていきたい。

モダリティに関して、日本のみならず米国やその他6か国においても Small molecule chemistry に対して積極的な前臨床提携・買収が行われている点も注目に値する。この傾向は、世界各国の企業、組織が低分子医薬品の開発は未だ重要であると考え、高い割合で前臨床提携・買収を続けてい

10) 医薬産業政策研究所、「米国EBP由来医薬品に関する調査－バイオ品と低分子品の比較－」ポジションペーパーNo.8（2025年7月）

ることを意味する。とりわけ日本はこの調査期間において世界第2位の実施国である。バイオ医薬品への投資促進については政策的にも重視されている。一方、低分子開発を促進する政策等はバイオ医薬品と比べると少ない⁹⁾と感じる。低分子に対する前臨床提携・買収が日本では他国に劣らず実施されている点、そして米国および各国も低分子に対し、現在も注力し続けている点にはしっかりと目を向けるべきであろう。

加えて、Gene therapy、Cell therapy が前臨床提携・買収の中で高い割合であった点に言及した。しかし前臨床提携・買収の数に目を向けると、日本はGene therapyで7件、Cell therapyで6件であり、米国の36件、20件、その他6か国の4件、5件と比べても数で他国の先を行く状態ではなかった。

薬効分類の観点では、日本はCNSに対する前臨床提携・買収の割合が最も高く、Oncologyの割合

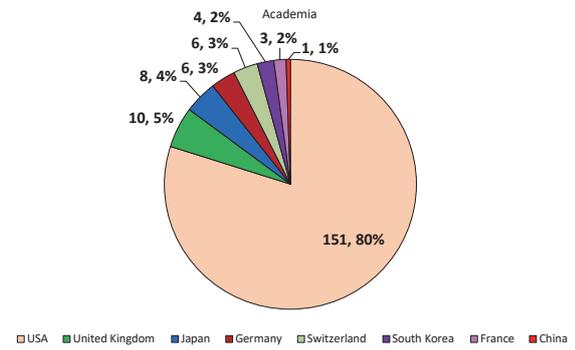
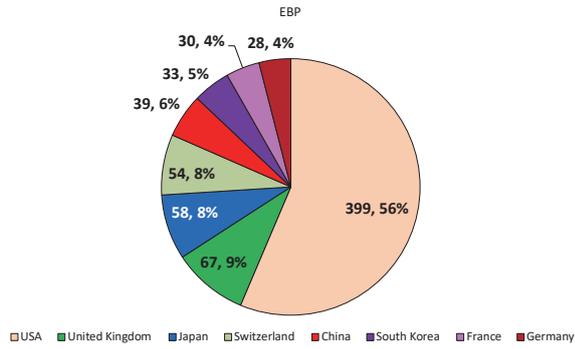
が低いことが日本の特徴的な傾向であった。数値の高低が優劣を示すわけではない。ただし、日本の経年推移を見ると、日本の企業、組織は様々な種類の薬効分類に前臨床提携・買収を行っており、他国はOncologyに集中していた。

本調査では日本と諸外国の前臨床提携・買収の傾向のいくつかを示した。本調査結果を深掘りするには、ここで得られた傾向がなぜ起きているのか？など原因を明らかにする必要がある。加えて、実用化に向けては、前臨床提携・買収を効果的、効率的に実施するだけでなく、すでに臨床開発ステージにある候補物質に対しても最適な提携・買収が望まれる¹¹⁾。それらの調査については今後検討したい。

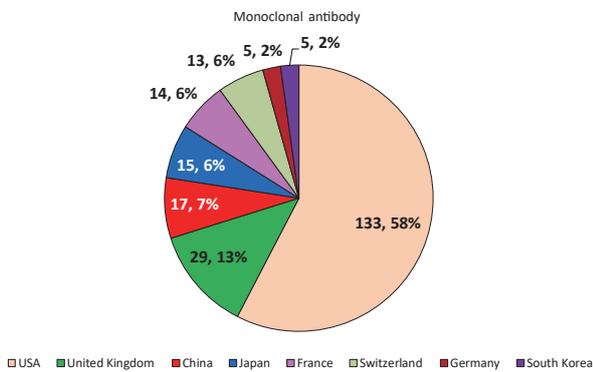
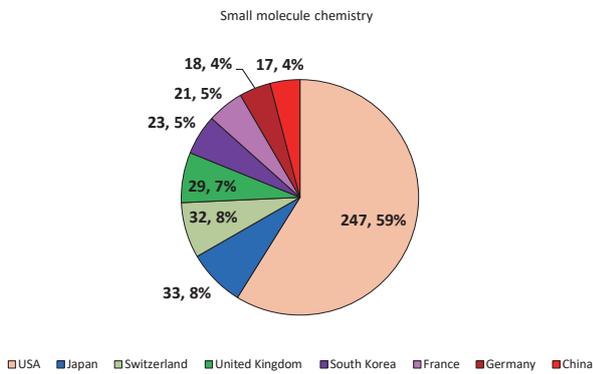
最後に、日本の医薬品産業が世界をリードすること、また、産業発展に伴い開発される革新的医薬品が、多くの患者さんや関係する多くの人々に貢献できることを強く願っている。

11) Current Partnering / Research and Markets, "Clinical Stage Partnering Terms and Agreements in Pharma and Biotech 2020-2025", <https://www.researchandmarkets.com/reports/4495782/clinical-stage-partnering-terms-and-agreements> (参照：2025/09/24)

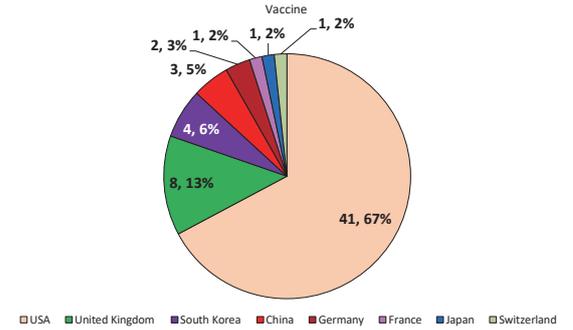
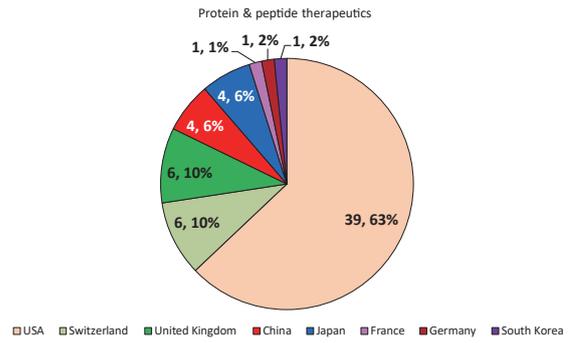
補足 前臨床提携・買収実施国
(オリジネーター)



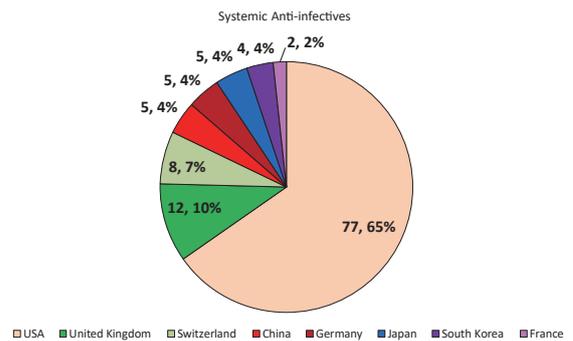
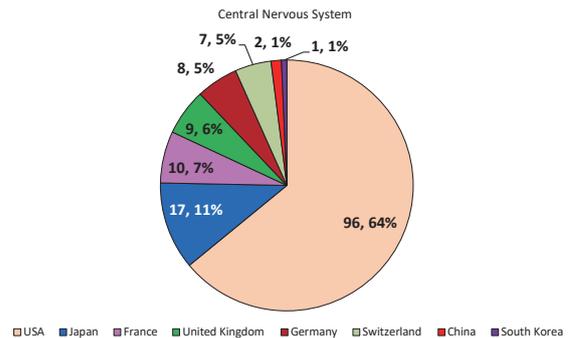
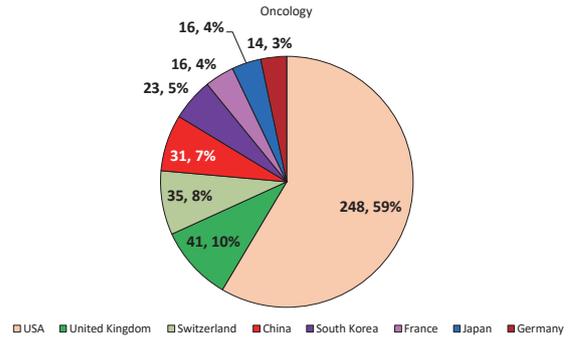
(モダリティ)



出所：Evaluate 社 Evaluate Pharma® (2025年3月時点)
をもとに医薬産業政策研究所にて作成



(薬効分類)



開発品を有する 国内新興医薬品企業（EBP）に関する調査

医薬産業政策研究所 主任研究員 森本 潔
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦知絵
医薬産業政策研究所 主任研究員 金井大輔

要約

- 2025年2月時点で臨床入りした開発品目を有する国内新興医薬品企業（Emerging Biopharma, EBP）について、その成り立ち、資金調達、現状、パイプラインを調査し、その特徴について解析した。
- 国内 EBP 特徴
 - ▶ 創業者は、アカデミア単独が圧倒的に多く、その他のカテゴリー（製薬出身、起業家など）との協業による創業は低調であった。
 - ▶ EBP への資金提供元は、国内 VC・CVC と同じくらいに個人による出資が多かった。
 - ▶ 資金は、国内からが圧倒的に多く、国外からの流入は少なかった。また国外では米韓に偏っていた。
- 国内 EBP パイプライン
 - ▶ 一企業当たりの品目数は、バイオ品よりも低分子品の方が、また、製薬関連出身者または複数カテゴリー出身者が創業者に含まれる企業の方が、多かった。
 - ▶ 領域は、オンコロジーについて、中枢神経、感覚神経が続いた。モダリティでは、低分子

が半数以上を占め、その次は細胞治療であった。

- ▶ 低分子品は、製薬出身者が含まれる企業の品目が半数以上を占めたが、アカデミア出身者が含まれる企業も4割程度は存在した。一方バイオ品は、3/4程度がアカデミア出身者が含まれる企業の品目であった。

1. はじめに

新薬創出の世界的潮流において、医薬品数とその市場規模は年々拡大しており¹⁾、その中でも米国は創薬の場、そのうちの drug discovery の場においても世界の中心である。医薬産業政策研究所では2013-2022年で日米欧3極のうち2極以上で承認された品目（グローバル承認品）について各品目における基本特許の由来国（特許明細に記載されている出願機関の国籍）と由来機関を調査し、米国由来の品目が全体のほぼ半数を占めること、その米国由来品の中でも新興医薬品企業（Emerging Biopharma, EBP²⁾が経年的に存在感を増してきていることを報告してきた^{3, 4, 5)}。さらに、これらの米国EBPとそれらが生み出した品目につい

-
- 1) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍 - 2023年の動向 -」政策研ニュース No.74（2025年3月）
 - 2) いわゆる狭義のバイオ品だけでなく、低分子品目も含めた新薬の創出を目指す企業と位置付けている
 - 3) 医薬産業政策研究所「日米欧 NME 承認品目の創出企業の国籍 - 2010~2019年の承認品目を中心に -」政策研ニュース No.62（2021年3月）
 - 4) 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業国籍調査を振り返る - 品目数の動的推移や創薬の担い手の観点から -」政策研ニュース No.64（2021年11月）
 - 5) 医薬産業政策研究所「日米欧 NME 承認品目の特許創出機関の国籍 - 日米欧における新規有効成分含有医薬品の承認品目での比較 -」政策研ニュース No.70（2023年11月）

て、起業、資金調達、特許出願、ライセンス、品目特性などを詳細に解析し、その特徴をポジションペーパーとして公表してきた^{6, 7)}。

日本は米国に次ぐ創業大国ではあったが、その地位は年々低下しており、創業力が低下しているという懸念が高まっている。その理由の一つに、EBPの育成の遅れが指摘されている。日本の創業における国内EBPの果たす役割は現段階では非常に小さく、我々の調査でも2013-2022年でのグローバル承認品における国内EBP由来品はゼロであった⁵⁾。こうした中、政府も「我が国の医薬品産業の国際競争力の低下、産学官を含めた総合的・全体的戦略・実行体制の欠如」という課題認識のもと、「創業力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」中間とりまとめ⁸⁾にて、「医薬品産業・医療産業全体を我が国の科学技術力を活かせる重要な成長産業と捉え、我が国の今後の成長を担う基幹産業の一つとして政策を力強く推進し」、「我が国が世界に肩を並べる創業の地となることを目指すべきである」とし、様々な施策を打ち出した。その中の一つに「アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成」が挙げられている。

そこで本稿では、国内EBPの現状を把握するために、現在開発品を有している国内EBPに対して、その成り立ち、資金調達、専門性、パイプライン、さらには品目ごとのモダリティ、領域、その由来などについて調査し、その特徴を明らかにした。

2. 調査方法

Evaluate 社 Evaluate Pharma[®] (2025年7月時点)のデータベースをもとに、調査時点で開発品目⁹⁾を有している企業を医薬産業政策研究所にて選定した。国内EBPは、1990-2024年に設立され

た日本企業のうち企業分類がBiotechnology およびSpecialtyを選定した。さらに、クラリベイト社 Cortellis Competitive Intelligence、Citeline 社 Pharmaprojects[®] | Citeline、2025、日経バイオ年鑑2025、各種HPなどを参照したうえで、最終的に調査対象とする国内EBPを選定した。

3-1. では、これら選定した企業のうち、ユーザーベース社のスピードスタートアップ情報リサーチをもとに各種HPなどを参照したうえで108社について分析を行った¹⁰⁾。3-2. および3-3. では、選定企業が有している開発パイプラインについて Evaluate Pharma のデータをもとに情報取得可能な93社、235品目を対象に医薬産業政策研究所にて解析を実施した。

3. 結果

3-1. 国内EBPの起源および資金調達

選定された国内EBP108社のうち、その起業の創業者経歴を調査したところ、アカデミア出身者が創業者に名前を連ねている企業が76社(アカデミア単独59社)、製薬企業経験者¹¹⁾が24社、(製薬単独17社)、その他(起業家、ベンチャーキャピタル、商社、バイオベンチャー出身者が創業など)は20社であった(重複カウントあり)。創業者がアカデミア出身者だけの企業が59社あった一方、製薬経験者やその他のメンバーなどの複数のカテゴリーが創業者に含まれている企業は18社しかなかった(表1、図1)。創業メンバーはほぼ日本人であった。

創業初期の資金調達元を調査したところ、出資者数としてはベンチャーキャピタル(VC)から31%、コーポレートベンチャーキャピタル(CVC)から29%、創業者から27%、その他個人からが44%であり、大学や公的機関からの出資はゼロであった(表2)。

6) 医薬産業政策研究所「低分子医薬品を創出した米国EBPに関する調査」ポジションペーパーNo.5(2024年12月)

7) 医薬産業政策研究所「米国EBP由来医薬品に関する調査 - バイオ品と低分子品の比較 -」ポジションペーパーNo.8(2025年7月)

8) 内閣官房HP: <https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/index.html> (参照: 2025/09/22)

9) 開発ステージにある品目を対象にした

10) すべてのEBPがすべての調査項目を満たしたわけではなかったため、解析対象調査サンプル数も同時に記載した

11) 製薬企業に一度でも所属したことがある人物を指す

表1 国内 EBP 創業者経歴とその企業数

創業者経歴	企業数*
アカデミア含む（アカデミア単独）	76（59）
製薬企業経験含む（製薬単独）	24（17）
その他**	20
複数カテゴリー***	18

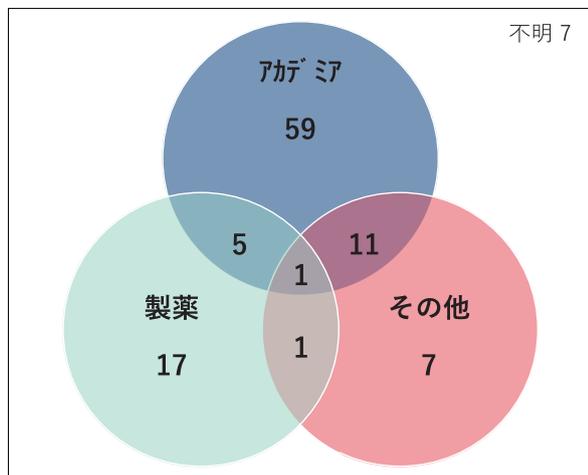
* 査企業数は108社だが重複を含むため全調査企業数（108社）を超える

** 起業家、ベンチャーキャピタル、商社、バイオベンチャー等の出身者が含まれる

*** アカデミア、製薬経験者、その他のメンバーなどの複数のカテゴリーが創業者に含まれている

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図1 国内 EBP 創業者経歴とその企業数（詳細）



出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

表2 設立時の出資者

	企業数*（比率）
VC	15（31%）
CVC	14（29%）
創業者	13（27%）
個人（創業者除く）	21（44%）
大学／公的機関	0

* VCと個人の出資など重複あり

調査数：48社

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

創業後の資金調達について調査した。創業から3年以内の総資金調達額は一社あたり10.1億円（平均値）または4.10億円（中央値）であった。そのうちの一部の企業では公的な機関（国または大

学）からの資金調達もあり、その額は2.10億円（平均値）または1.69億円（中央値）であった。しかしながら、公的機関から資金援助を受けた企業は18社と多くは確認されなかった（表3）。

IPOを達成した42社について、創業からIPO達成までの期間と、調達額について調査した（表4）。IPO達成までの期間は一社あたり8.9年（平均値）または8.4年（中央値）であった。IPO達成までの調達額は、45.2億円（平均値）または29.3億円（中央値）であった。

どのような投資会社が国内EBPに投資しているかについて調べた（図2）。国内EBP109社に対して、総額2,611億円の投資がされており、そのうち1,606億円（投資件数1507件）はベンチャーキャピタル（VC）からであった。次にコーポレートベンチャーキャピタル（CVC）から612億円（同494件）、国・大学関連189億円（同113件）、個人82億円と続いた。製薬関連CVCからの投資としては共同研究由来のものも散見された。

調査したEBPに対する、国内外別の投資金額について調査したところ、国内、国外からの投資額はそれぞれ2,301億円（88%）、310億円（12%）で、ほとんどが国内からの投資であった（図3）。海外からの直接投資について国別に調査したところ、大韓民国からが最も多く84.7億円、ついで米国が

表3 創業から3年以内の資金調達額（一社あたり）

	総額 （百万円）	公的機関より （百万円）
平均値	1010	210
中央値	410	169

調査数：99社（総額）、18社（公的機関より）

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

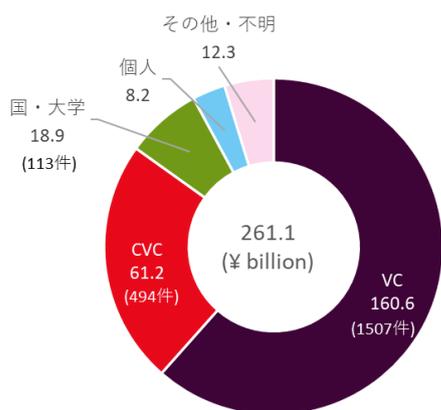
表4 創業からIPOまで（一社あたり）

	期間 （年）	総調達額 （十億円）
平均値	8.9	4.52
中央値	8.4	2.93

調査数：42社（期間）、26社（総調達額）

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

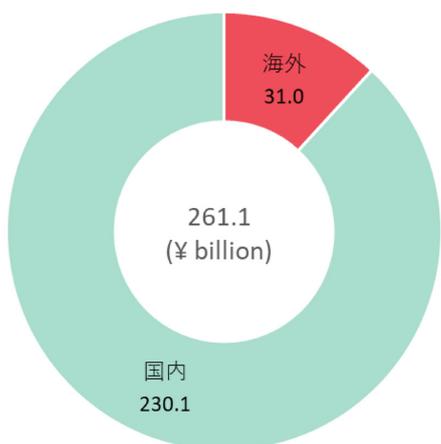
図2 投資機関別国内 EBP への投資金額



括弧内は投資件数

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図3 国内 EBP への投資金額（国内外別）



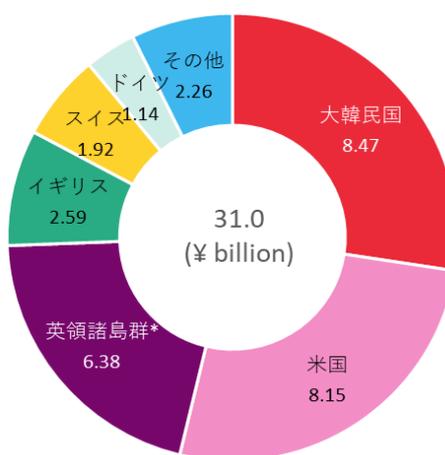
出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

らの81.5億円であり、この2か国および租税回避地と思われる英領諸島からの投資で、海外からの直接投資の約3/4を占めた（図4）。

3-2. 国内 EBP 企業の所有品目数

今回調査可能であった企業93社の開発パイプライン（Phase I-Filed）はトータル235品目¹²⁾で、日本の機関または企業がオリジネーターの品目は調査時点で941品目あったので、約1/4が国内EBP由

図4 国内 EBP への海外からの投資金額（国別）



*ケイマン、チャネル、バミューダ各諸島

出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチをもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

来品ということであった。

国内 EBP 一企業あたりの平均品目数は2.5品目であった。バイオ品¹³⁾は109品目ありそれらを有している企業は58社で一企業あたりの平均品目数は1.9品目、低分子品は126品目で一企業あたりの平均品目数は2.9品目であった（表5）。バイオ品も低分子品も有している企業は9社であった。

次に国内のEBPについて、一企業あたりが所有する開発品目数を創業者別に分類した（表6、図5）。創業者がアカデミア出身者のみの企業では、一企業あたりの所有品目数が2.2品目だったの

表5 モダリティ別所有品目数

	品目数	企業数*	企業あたり品目数 平均値／中央値 (最少－最大)
全体	235	93	2.5/1.0 (1－19)
バイオ	109	58	1.9/1.0 (1－7)
低分子	126	44	2.9/2.0 (1－19)

*重複カウントがあるため合計は総企業数を超える

出所：Evaluate Pharma（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

12) 一つの化合物としてカウントした。1化合物で複数のインディケーションを有している品目であっても1とカウントした

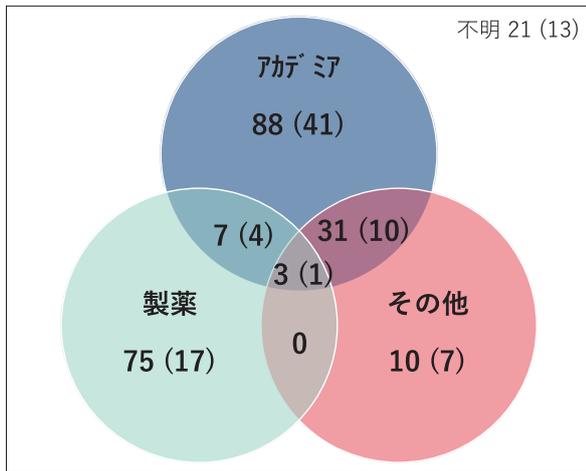
13) 抗体、核酸、ペプチド・蛋白、細胞・遺伝子治療、ワクチン等が含まれる

表6 創業者出身別所有品（抜粋）

	アカデミア 単独*	アカデミアを 含む複数 カテゴリー**	製薬を含む カテゴリー***
品目数	88	41	85
企業数	41	15	22
企業あたり 品目数	2.2	2.7	3.9

* 大学、公的研究機関のみからの起業
 ** アカデミア+製薬、アカデミア+その他、またはアカデミア+製薬+その他
 *** 製薬単独、製薬+アカデミア、製薬+その他、または製薬+アカデミア+その他
 出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチおよびEvaluate Pharma（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

図5 創業者出身別所有品詳細



数値は品目数、カッコ内は企業数
 * その他：起業家、ベンチャーキャピタル、商社、バイオベンチャー等の出身者が含まれる
 出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチおよびEvaluate Pharma（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

に対して、創業者がアカデミアに加えてその他のカテゴリーの出身者も加わった企業では2.7品目に上昇した。ちなみに製薬関連出身者が含まれるEBPでは、一社あたりの平均所有品目数が3.9品目であった。

ついで創業者出身別のモダリティ分類を調査した(表7)。アカデミアが含まれるカテゴリーではバイオ品が多く、製薬出身者が含まれると低分子品が多くなっていった。しかしながらアカデミア出身者が含まれる企業からの開発品において、1/3強

表7 創業者出身別の品目モダリティ

	アカデミア 単独*	アカデミアを 含む複数 カテゴリー**	製薬を含む カテゴリー***
全体	88	41	85
バイオ	55	28	17
低分子	33	13	68

* 大学、公的研究機関のみからの起業
 ** アカデミア+製薬、アカデミア+その他、またはアカデミア+製薬+その他
 *** 製薬単独、製薬+アカデミア、製薬+その他、または製薬+アカデミア+その他
 出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチおよびEvaluate Pharma（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

= (33+13)/(88+41) は低分子品であり、46品目のうち10品目がリポジショニング、残り36品目はNew Molecular Entity (NME) で大半を占めた(図表なし)。

米国は市場規模が大きく収益の見込みが高いことから、治験を米国で行うことが戦略的に重要である。そこで、米国での治験実施率について調査した(表8)。米国で実施という事実注目したため、米国で実施後中止した品目も含まれている。USでの治験実施率は、製薬出身者が含まれるEBP品が最も高く、ついで創業者にアカデミアを含む複数カテゴリーの出身者が含まれる企業からの品目であった。

表8 米国での治験実施率（創業者別）

	アカデミア 単独*	アカデミアを 含む複数 カテゴリー**	製薬を含む カテゴリー***
米国治験	33	17	39
全体治験	88	41	85
実施率	38%	41%	46%

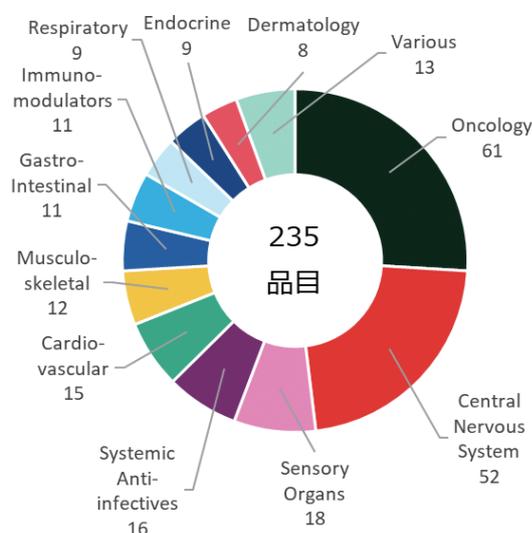
* 大学、公的研究機関のみからの起業
 ** アカデミア+製薬、アカデミア+その他、またはアカデミア+製薬+その他
 *** 製薬単独、製薬+アカデミア、製薬+その他、または製薬+アカデミア+その他
 出所：スピーダ スタートアップ情報リサーチおよびEvaluate Pharma（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成（無断転載禁止）

3-3. 国内 EBP 所有品目におけるパイプライン分析

国内 EBP が所有し開発しているパイプライン 235 品目についての分析を行った。対象領域についてはオンコロジーが最も多く 61 品目、ついで、中枢神経系 52 品目、感覚神経系 18 品目と続いた (図 6)。

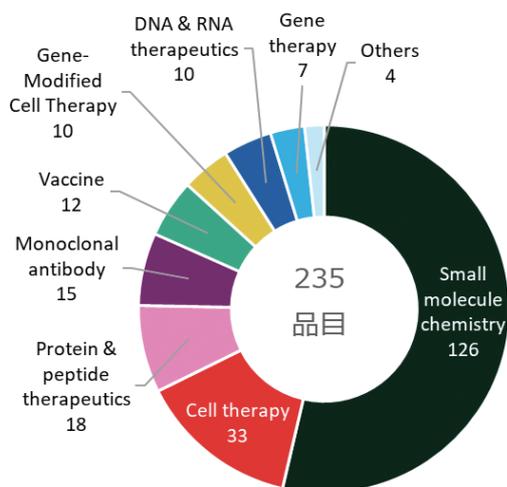
また、モダリティについては、ここではバイオ品目を詳細に分類して分析した (図 7)。低分子品 126 品目について、細胞治療が 33 品目、蛋白・ペプ

図 6 国内 EBP 開発品の対象疾患領域



出所：Evaluate Pharma (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成 (無断転載禁止)

図 7 国内 EBP 開発品のモダリティ



出所：Evaluate Pharma (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成 (無断転載禁止)

チドが 18 品目、モノクローナル抗体が 15 品目と続いた。

4. まとめ、考察

4-1. 国内 EBP の成り立ちおよび資金調達に関しての米国 EBP との比較

開発品を有する国内 EBP についてその成り立ちを調べたところ、創業者がアカデミア出身者のみの企業が圧倒的に多く、その他のカテゴリー (製薬出身、起業家など) との協業による創業はあまり多くなかった。国内 EBP への資金提供は、国内 VC・CVC からの資金調達に加えて、個人による出資が多かった。公的資金については、EBP 設立時にあたっての提供はなかったが、その後数は少ないものの 1.7 億円 (中央値) 程度は投資されていた。時期的には 10 年程度前にはなるが、グローバル品目を創出した米国 EBP が National Institute of Health (NIH) から受けた額 (150 万ドル前後)^{6,7)} と同程度であった。資金は、国内からが圧倒的に多く、国外からの資金調達は少なく、調達元は米韓に偏っていた。医薬産業政策研究所のこれまでの調査から、グローバル品目を創出した米国 EBP では、単一カテゴリー出身者による創業の割合は低く、複数カテゴリー出身者が集結し、それぞれが自身の担う役割を全うしていたことが示されている^{6,7)}。先に示したように日本の EBP の特徴として創業者は圧倒的にアカデミア出身者が多いが、疾患メカニズム解明やそのキーファクターの同定、さらにはそこから創業シーズを見出す、という観点においては研究者としての資質が重要で、ヒトを用いた臨床開発までこぎつけるということはそれなりの特性を有した化合物を生み出したといえる。しかしながら、資金調達や target product profile の作成、さらには知財戦略など、研究者としての資質以外の側面まで研究者自身に負わせてしまっている。本研究から、アカデミア出身者のみで創業した EBP よりも複数のカテゴリーの出身者を有して創業した企業の方が、一社あたりの所有品目数が多い傾向にあることや、まとまった資金と創業における戦略性が必要とされる米国での治験実施率が高いことを鑑みても、各種の専門性

を有したメンバーの参画の重要性が見て取れる。

今回3.2. の冒頭で記載したように、日本オリジネーターの開発品目のうち、国内EBPが占める割合は約1/4に過ぎなかった。その一方、アメリカでは約2/3がEBPであった。日本では創業スタートアップエコシステムが未成熟で、スタートアップに対する魅力が極端に低く、待遇面や日本人の気質面等から企業研究者の転職意識や起業マインドが低調なため、スタートアップが過度にアカデミアに依存した形になっていることが原因の一つと思量している。奥山¹⁴⁾ は、国内EBPにおいて「スタートアップが企業スピンオフであること」と「企業での研究開発経験を有する人物がスタートアップの研究開発をリードしていること」が、そのスタートアップの評価額と資金調達総額に正の影響を与えることを示した。企業での研究開発経験がEBPとしての価値向上に大いに貢献しているものと思料する。もちろん国内EBP設立や運営にあたり、製薬出身者やVCからのサポートはあるとは思われるが、基本方針は創業時のブループリントに支配される傾向にあると考えられる。成功した米国EBPのように、企業運営に対して最初から各分野の専門家がアカウントビリティを有する立場で参画し、それぞれの専門性を活かした形で協業を志したうえで起業し、EBPを運営していく必要性を感じた。

我々はポジションペーパー^{6, 7)}にて、資金面においては、グローバル品を有する米国EBPにおいて、IPO達成までに調達した資金は8300万-1億3000万ドルであったことを報告しているが、これは為替レートによるものの、国内EBPの調達額である約30億円に比べて3-7倍程度大きい金額を調達していた。また、IPOを達成した企業に関して、その達成期間は、米国EBPでは4-6年^{6, 7)}なのに対して、国内EBPは、約8.4年と、1.5-2倍程度長かった。IPO達成率は米国EBP67-70%

に対して国内EBPは40%程度であった。資金面の比較においては、過去に我々が調査した米国EBP品^{6, 7)}については、すでにグローバル品目(日米欧のうち2極以上で承認された品目)を所有しているいわゆる成功した企業からのデータである一方、本稿で調査した国内EBPについては、一部承認品は有するがグローバル品目は所有していない企業のデータのため、直接的な比較はできない。その一方で、米国EBPの資金調達などは今から10年以上前のデータであり現在はさらに高騰していると考えられるものの、少なくとも米国で成功したEBPの資金調達は、開発品を有する国内EBPの調達額に比べてはるかに高額であったといえる。さらに国内EBPでは、立ち上げ時の個人の資金負担は大きく、国や大学らの支援もない。また海外からの直接の資金流入もあまりない。実際に日米のVC投資額の推移で2017-2021年においても3-10倍以上の開きがあることを芦田¹⁵⁾は報告している。国内VCが海外の機関投資家から投資を受けている可能性もあるが、直接の投資割合は少ない。

後述するように国からのEBP活性化支援策について様々な施策が打ち出されている。VC・CVCからのさらなる継続的な資金流入に加えて、立ち上げ時の支援策などについて、過去に成功した米国EBP並みにするなり、エンジェル投資家を呼び込むだけでも、貴重な研究成果の社会実装化に向けた資金を確保でき、開発のスピードがアップし、国内EBPの存在感が高まっていくものと思料する。

4.2. 国内EBPパイプラインからの日本の強み

国内EBPの開発パイプラインを見ると、領域ではオンコロジーについて、中枢神経、感覚神経が多くを占めており、中枢・感覚器を合わせた神経関連では、オンコロジー領域より多くなった。

14) Ryo Okuyama. Leveraging corporate assets and talent to attract investors in Japan : a country with an innovation system centered on large companies. J. Risk Financial Manag. (2024) 17 : 539

15) 芦田耕一、「日本の創業スタートアップ・エコシステムの現状と課題」、医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会、厚生労働省、2023 <https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001036954.pdf> (参照 : 2025/09/22)

国内EBPが手掛けている割合が高いモダリティとして低分子品と細胞治療品があげられる。細胞治療においては日本ではiPS分野での研究に一日の長があり、それに伴っての治療薬や再生医療等製品の開発が盛んであり、多くの国内発EBPがその実装化にしを削っている。ただこの分野でも米国や中国の追い上げが激しい¹⁶⁾ことから、追加の資金投入による開発の加速化が望まれる。

低分子については、EBPであっても全パイプラインの半数以上は低分子品が占めている。そのうちの56%は製薬企業出身者が設立したEBPの品目であったが、40%は製薬以外の出身者によるEBP品目であり、さらにそのうちの7割程度はNMEであった。当初製薬以外の低分子品目はリポジショニングが多くを占めていると予想したが、多くはNME品であった。奥山¹⁷⁾は米国のスタートアップが低分子の新薬を創出できることを示し、その理由として製薬企業の合併・買収及び低分子からバイオ医薬へのトレンドの変化によって2000年代以降に多くの medicinal chemist が大手企業での職を失っており、こうした人材がスタートアップに移動したこと、インシリコ技術の発達などで低分子創薬自体がケミストの熟練度にあまり依存しない技術になりつつあること、スタートアップが創製した改良新薬の特徴として、上市スピードよりも差別化を重視した創薬が行われている傾向がみて取れたこと、などを挙げている。国内EBPの低分子品もそのような可能性がある。

低分子医薬品は、元来日本の製薬メーカーが得意としたモダリティであり、現在のパイプラインにおいてもEBPに限らず多くの日本企業が開発中

のモダリティでもあり^{16, 18)}、非臨床段階のマイルも活発である¹⁹⁾。また先述したように、国内EBPにおいても積極的に推進しているモダリティである。確かに低分子は、モダリティとしての成熟度は高くコモディティ化しているとも言われているが、初期合成コストが低いことや、経口投与可能であること、中枢移行性なども制御できることから中枢領域とも親和性が高く、今後もしばらくは創薬モダリティの中心の一つを占めると言われている²⁰⁾。また、特異性の高い高分子でヒトでの薬効が確認されたのちにリバーストランスレーションなどを用いて利便性の高い低分子を開発する、あるいはAI創薬との親和性の高さなどからそれらを駆使した新しい創薬手法が出てくる²¹⁾など、未だに技術進歩が続いているモダリティでもある。

医薬産業政策研究所においても過去に低分子の重要性を説いている。米国でも全モダリティの約半分は依然として低分子であり、その由来は1990以降創業もしくは承認から操業30年以下の機関が占めていたこと、そしてその比率は調査年次ごとに上昇していき、米国ではベンチャー起源の低分子医薬品と大手が共存共栄関係にあること、またアメリカHQカンパニーではpreclinical stageの低分子薬品研究数は低下しておらず、アメリカでも低分子薬が総数維持の下支えをしており、その低分子薬創出にも新興企業が大きな役割を果たしていることを、我々は報告している⁵⁾。また高橋²²⁾は、Calcium-gene related peptide (CGRP) inhibitorと脊髄性筋萎縮症 (SMA) 治療薬に関して、低分子と高分子のすみわけについて、バイオ

16) 医薬産業政策研究所「米国開発パイプライン数からみる日本の創薬力の現在位置」政策研ニュースNo.76 (2025年11月)

17) Ryo Okuyama. Increased contribution of small companies to late-entry drugs : a changing trend in FDA-approved drugs during the 2020s. Drug Discovery Today. (2024) 29 : 103866

18) 医薬産業政策研究所「創薬モダリティ別医薬品開発パイプラインから見た新規医薬品の創製企業 (Originator) に関する調査」政策研ニュース No.61 (2020年11月)

19) 医薬産業政策研究所「前臨床への提携・買収調査-日本と他国の比較-」政策研ニュース No.76 (2025年11月)

20) Michelle W. Y. Southey and Michael Brunavs. Introduction to small molecule drug discovery and preclinical development. Frontiers in Drug Discovery (2023) 30

21) Chen Fu and Qiuchen Chen. The future of pharmaceuticals : Artificial intelligence in drug discovery and development. J. Pharm. Anal. (2025) 15 : 101248

22) 医薬産業政策研究所「新薬における創薬モダリティのトレンド -多様化/高分子化の流れと、進化する低分子医薬-」政策研ニュース No.64 (2021年11月)

医薬品の機能をより小さな分子で代替することは、今後の創薬研究の一つの潮流になる可能性について言及している。さらに戸邊²³⁾は、分子量が1000–15000程度の中分子に分類される大環状マクロライド、核酸医薬、天然物医薬などについても、低分子医薬で培ったノウハウの活用の可能性について論じている。従来強かった低分子創薬について、新たな技術で再度深化させることで、画期的新薬を日本から生み出すことは可能であると思料する。

5. おわりに

2024年7月の創薬エコシステムサミットにおいて当時の岸田首相は、日本を世界の人々に貢献できる「創薬の地」とし、こうした方針を政府がコミットしていくことを宣言した²⁴⁾。そこでは政府は国内外の製薬企業や研究機関を招いた会合を開催し、目標として、創薬スタートアップへの民間投資額を2028年までに2倍にし、企業価値100億円以上の創薬スタートアップを10社以上輩出するこ

とを掲げた。

それを受け官民協議会を設置し、第1回「創薬力向上のための官民協議会」(2025年6月)²⁵⁾を開催し、創薬クラスターの整備や製造拠点強化などを議論し、官民で制度改善やガバナンス強化を進める枠組みを整えようとしている。また、「経済財政運営と改革の基本方針2025(骨太方針)」²⁶⁾では、創薬エコシステムの発展、イノベーション推進、および薬価上の適切な価値評価が強調されている。さらには、創薬ベンチャー支援策の拡充の一環として、省庁の壁を越えたAMEDによる支援拡大も謳っている。

これらのことから、産学官が一体となって日本を再び創薬大国としていく機運が、特に資金面においていつになく高まっている。これらの機運を活かすためにも、現在国内EBPが抱える課題をクリアし、日本の強みが生かせる領域・モダリティを早急に構築することで、一日でも早く日本発の画期的新薬を世界に届ける体制が確立されることを願ってやまない。

23) 医薬産業政策研究所「創薬化学の側面から見た低分子医薬の将来像 –低分子から中分子への広がり–」政策研リサーチペーパー・シリーズ No.72 (2018年5月)

24) 首相官邸 HP : https://www.kantei.go.jp/jp/101_kishida/actions/202407/30souyaku.html (参照 : 2025/09/22)

25) 内閣府 HP : https://www8.cao.go.jp/iryuu/kanmin_kyogikai.html (参照 : 2025/09/22)

26) 内閣府 HP : <https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2025/decision0613.html> (参照 : 2025/09/22)

CDMO 利用環境に関する日本の状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦知絵

要約

- 本稿では、Evaluate社のデータベース（CDMO Intelligence[®]）を用いて、主要な創薬国に事業所を置く CDMO 企業数を調査した。
- 自国内に事業所を置く CDMO 企業数は、米国、ドイツ、中国、フランス、イギリス、日本、スイス、韓国の順となり、日本国内に事業所を置く CDMO 企業数は他の主要創薬国より少なく、特に外資 CDMO 企業数が他国より少なかった。
- 前臨床段階、臨床段階の CMC 業務受託サービスを提示する CDMO 企業数についても同様であり、日本は他国より少なく、特に抗体やADCの受託可能企業数が少なかった。

1. はじめに

医薬品開発においては、臨床、非臨床データの集積とともに、製品の製造に関する技術開発が重要である。近年のモダリティの多様化に伴い、医薬品企業が自社内で製造、技術開発する以外の選択肢として医薬品開発製造受託機関（Contract Development and Manufacturing Organization、以下 CDMO）との協業が重要になってきている。昨今議論されることが多い創薬エコシステムの話題においても CDMO は重要な一要素と位置付けられており、製品開発における CDMO の利用環境を他国と比較することで課題感の把握や目標設定の一助となると考えらえる。

今般、Evaluate 社より CDMO の情報を集約したデータベースである CDMO Intelligence[®]が発売され利用可能となったことから、日本における CDMO 利用環境についての解析を試みた。

なお、本稿では各 CDMO 企業数をベースに解析対象とした国別の状況を図示したが、各企業の製造キャパシティについては未解析であるため、各国の直接的な医薬品製造能力を示すものではない点にご留意いただきたい。

2. 調査方法

本稿では、Evaluate 社のデータベースである CDMO Intelligence[®]から、2025年7月時点で記載されていた CDMO 1,183社について本社所在地、事業所所在地や受託サービス等の情報を抽出した¹⁾。3-1では、本社所在地国籍別及び従業員規模別の CDMO 企業数を示した。3-2では、主要創薬国として日本、米国、中国、ドイツ、フランス、イギリス、スイス、韓国の8か国に着目し、これらのうちいずれかの国内に事業所を置く CDMO 企業数及び従業員規模別の CDMO 企業数を示した。3-3以降では、3-2で集計した CDMO について、各企業が提示する受託サービス別に CDMO 企業数を集計した。製造や技術開発などに関する CMC 関連業務（以下、CMC 業務）のうち、3-3では前臨床段階の品目を対象として受託可能とする CDMO 企業数を、3-4では臨床段階の品目を対象

1) 本稿の分析には CDMO Intelligence[®]内の以下のパラメータを用いた。

本社所在地国籍：HQ Country、従業員規模：Company Size (Employees)、前臨床段階または臨床段階の受託可否：Development Phase Focus、モダリティ別：Product Modality/Technology、原薬工程、製造工程の受託サービス区分：Service Offered Level 1

として受託可能とするCDMO企業数を集計し、また受託可能とするモダリティ別に集計したCDMO企業数についても合わせて図示した。

3. 結果

3-1. 本社所在地国籍別 CDMO 企業数

本社所在地国籍の情報が記載された CDMO 1,183社について、本社所在地国籍別 CDMO 企業数を図1に、従業員規模別のCDMO企業数を図2に示した。図1の本社所在地国籍別 CDMO 企業数では米国が400社超で最多であり、次いでインド、ドイツ、日本が続いた。また、図1に示した上位12か国に本社を置くCDMO企業数は、CDMO Intelligence®から抽出したCDMO企業数の8割以上を占めていた。続いて、これら12か国について本社所在地国籍別及び従業員規模別 CDMO 企業数とその割合を図2に示した。米国に本社を置く

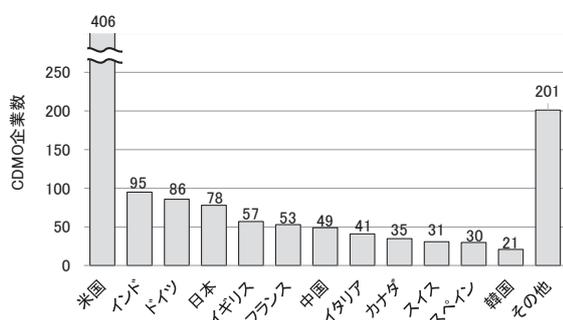
CDMOのうち半数近くは従業員50人以下の企業であった。ドイツ及びイギリスも同様であり従業員50人以下企業の割合が比較的多かった。一方、従業員1,000人超のCDMOの本社所在地国籍別企業数については米国、インド、中国の順に多く、特にインドと中国では国内 CDMO 企業数の3割以上を従業員1,000人超の大型企業が占めていた。

3-2. 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数

CDMO Intelligence®に収載される各事業所所在地データによると、主要な創薬国の複数に事業所を持つ国際展開の進んだCDMOが多く見られた。また、本社を米国に置く日系企業や中国系企業も確認された。このため、3-1で示した本社所在地国籍別の CDMO 企業数がすなわち当該国内における CDMO の利用しやすさには直結しないと考えた。製品及び治験薬の製造や技術開発業務の CDMOへの委託を考える際に、国内に事業所がある CDMO であれば技術面を中心に綿密なコミュニケーションをとれる委託先として検討できると考え、3-1で示した本社所在地国籍別とは別に、主要な創薬国内に事業所を置く CDMO 企業数を国別にカウントした。

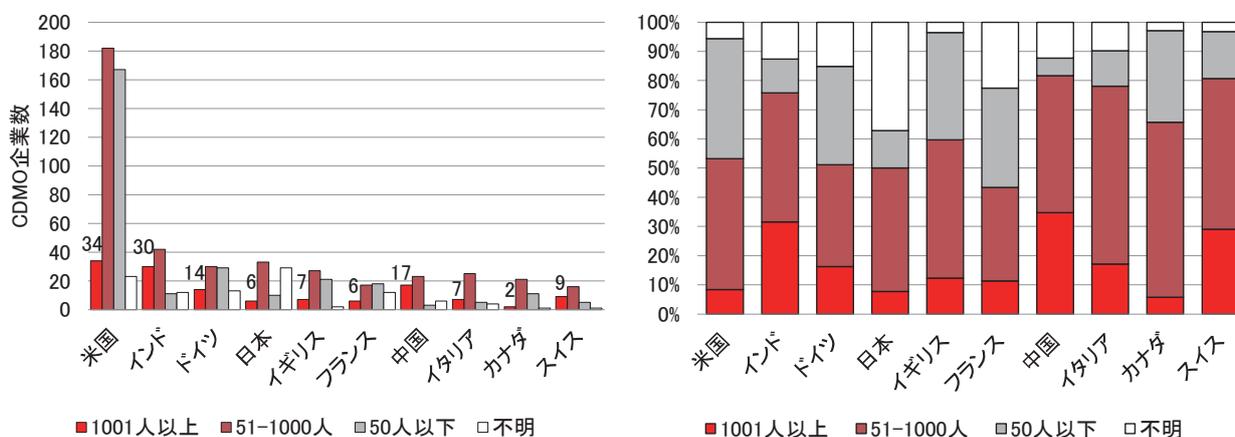
図3では主要な創薬国8か国のいずれか国内に事業所を置く CDMO 企業数のうち、自国内に本社を置く企業と、自国内に本社以外の事業所を置く外資企業（本社所在地は自国外）を分けて図示した。図4では、従業員規模別の CDMO 企業数

図1 本社所在地国籍別 CDMO 企業数



出所：Evaluate CDMO Intelligence®（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

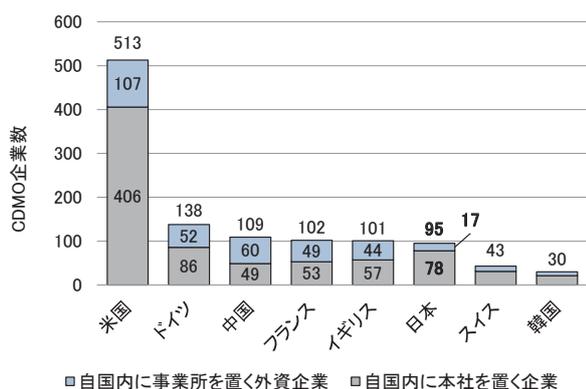
図2 本社所在地国籍別及び従業員規模別の CDMO 企業数と割合



出所：Evaluate CDMO Intelligence®（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

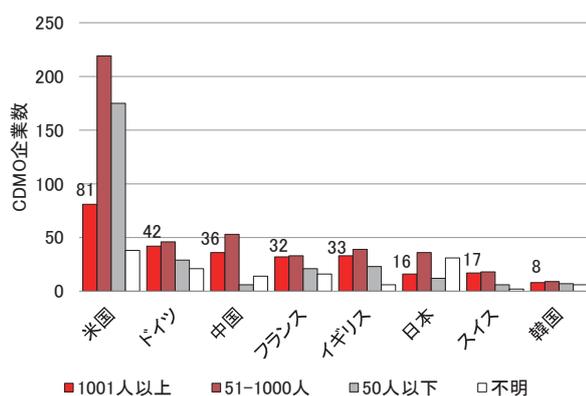
を示した。その結果、自国内に事業所を置く CDMO 企業数の多い主要創薬国は、米国、ドイツ、中国、フランス、イギリス、日本、スイス、韓国の順となり、日本国内に事業所を置く CDMO 企業数は他の主要創薬国より少なく、特に外資 CDMO 企業数が他国より少なかった。従業員規模別では、米国、ドイツ、中国、フランス、イギリスに事業所を置く従業員1,000人超の大型 CDMO

図3 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数



出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図4 主要創薬国に事業所を置く CDMO の従業員規模別企業数



出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

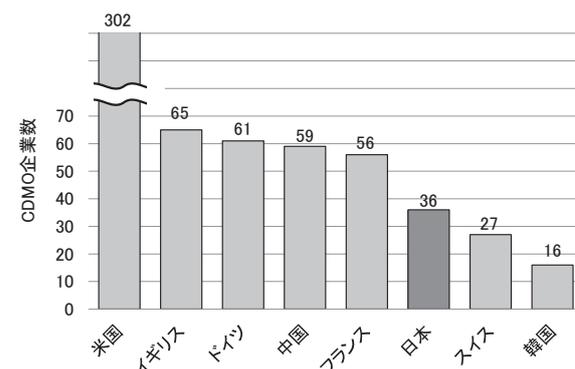
が30社以上であるのに対し、日本は16社であった。

3-3. 前臨床段階の製造、技術開発研究等業務を受託する CDMO 企業数

CDMO Intelligence®には CDMO 各社の公開情報をもとに受託サービスについて情報が記載されており、さらにその情報をもとに開発段階別、モダリティ別のフラグが付与されている。3-2で示した主要創薬国のいずれかに事業所を置く CDMO について、その受託サービスの特徴について概況するため、ここでは前臨床段階の品目を対象とした CMC 業務を受託サービスとして提示する CDMO 企業数を各国別に図5に示し、モダリティ別に集計した CDMO 企業数を図6に示した²⁾。また、米国の CDMO 企業数に対する各国企業数の割合を図7に示した。

その結果、前臨床段階の CMC 業務を受託する国別の CDMO 企業数は、米国に次いでイギリス、ドイツ、中国、フランスと続き、日本はこれらの国より20社ほど少なかった。受託可能なモダリティについて低分子、抗体または ADC、細胞医薬品、遺伝子治療をカウントしたところ、日本はい

図5 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数 (前臨床段階の CMC 業務受託)



出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

2) 3-3では、CDMO Intelligence®内の以下のパラメータを用いた。

- “Development Phase Focus”：Preclinical

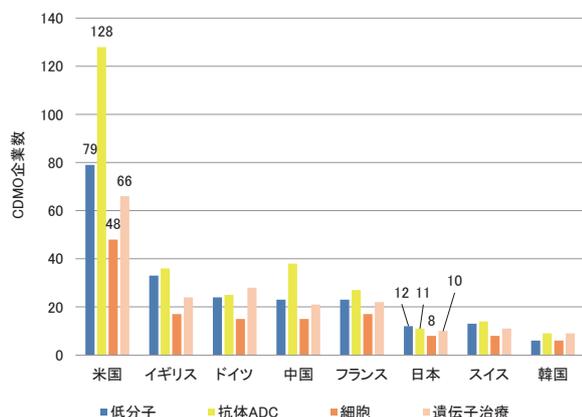
-モダリティの分類は“Product Modality/Technology”に記載されたフラグのうち下記のとおり抽出し、集計した。

Small Molecule：低分子、Antibody Drug Conjugate (ADC)、Bispecific Antibody、Fusion Antibody、Monoclonal Antibody、Recombinant Antibody：抗体 ADC (抗体または ADC)、Cell Therapy：細胞 (細胞医薬品)、Gene Therapy、Genome Editing、Viral Vector：遺伝子治療

ずれも10社程度であった。圧倒的に企業数の多い米国に対する割合で見ると、日本国内で低分子と細胞医薬品、遺伝子治療関連を受託する企業数は米国に対してそれぞれ15%程度あったが、抗体ま

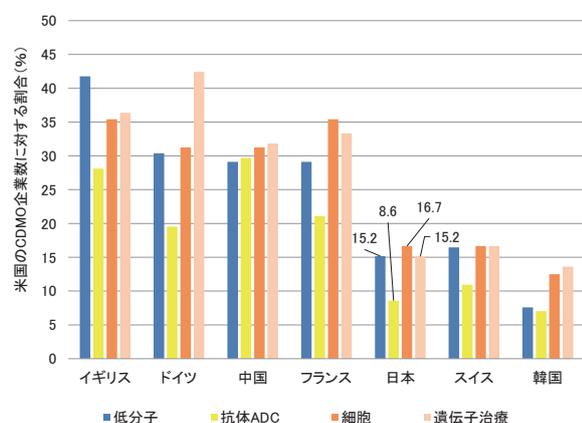
たはADCは10%以下（8.6%）であった。

図6 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数 (前臨床段階、受託サービス別)



出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図7 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数 (前臨床段階、受託サービス別、米国に対する割合)



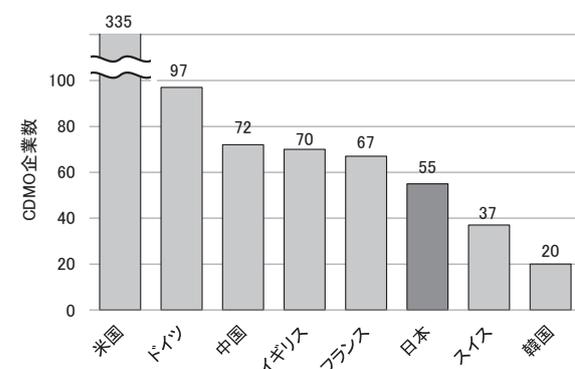
出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

3-4. 臨床段階の治験薬製造等業務を受託する CDMO 企業数

次に、主要創薬国に事業所を置く CDMO のうち、臨床段階の品目を対象とした治験薬製造等の CMC 業務を受託サービスとして提示する CDMO 企業数を図8に、原薬/製剤工程別、モダリティ別の企業数を図9に示した³⁾。米国のCDMO企業数に対する各国企業数の割合を図10に示した。

その結果、臨床段階の CMC 業務を受託サービスとして提示する CDMO 企業数は、多い順に米国、ドイツ、中国、イギリス、フランス、次いで日本となった。米国内の CDMO 企業数に対する割合で見た場合、日本国内に事業所を置く CDMO のうち低分子原薬製造及び細胞原薬製造を受託する企業数は20%程度ある一方、低分子医薬品とバイオ医薬品の製剤工程や抗体または ADC の原薬製造を受託する CDMO 企業数は米国の10%程度であった。

図8 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数 (臨床段階の CMC 業務受託)



出所：Evaluate CDMO Intelligence® (2025年7月時点) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

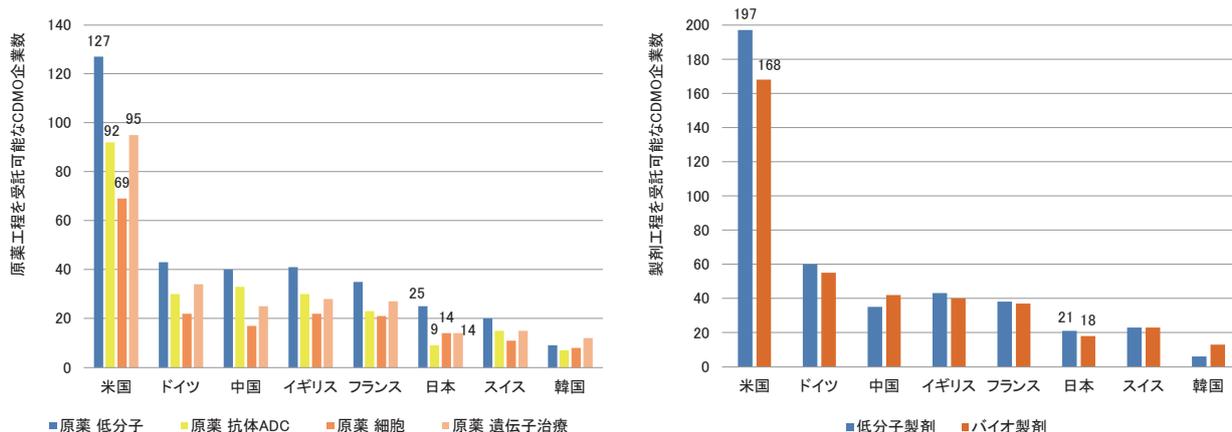
3) 3-4では、CDMO Intelligence®内で付与されたフラグのうち以下を集約して図示した。

- “Development Phase Focus”：Clinical
- モダリティの分類は3-3と同様。
- “Service Offered Level 1” に記載されたフラグを抽出し、下記のとおり分類した。

Manufacturing - Chemical API：低分子原薬、Manufacturing - Chemical Drug Product：低分子製剤

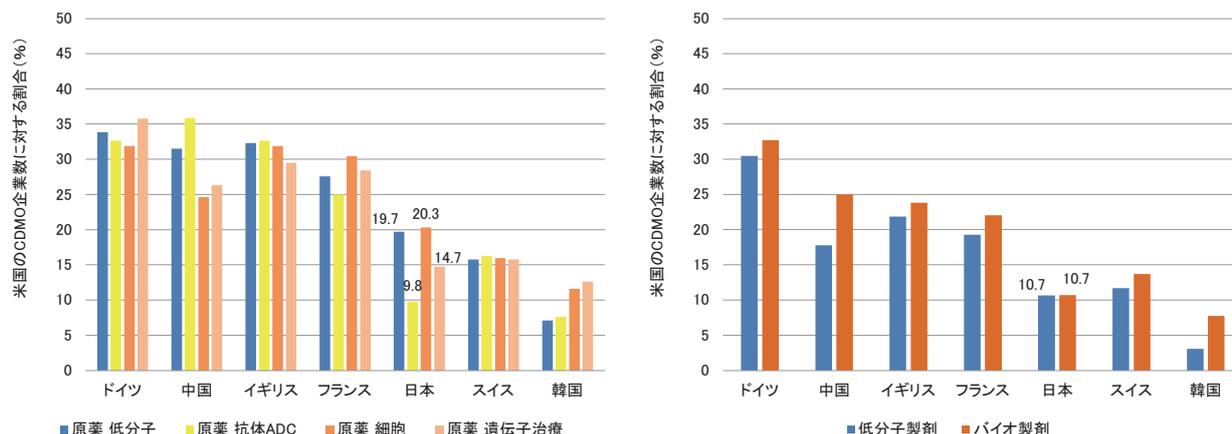
Manufacturing - Biologics API：別途抽出したモダリティの分類に従い、原薬 抗体 ADC、原薬 細胞、原薬 遺伝子治療を抽出した、Manufacturing - Biologics Drug Product：バイオ製剤

図9 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数（臨床段階、受託工程、モダリティ別）



出所：Evaluate CDMO Intelligence®（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成
左) 原薬工程、右) 製剤工程

図10 主要創薬国に事業所を置く CDMO 企業数（臨床段階、受託工程、モダリティ別、米国に対する割合）



出所：Evaluate CDMO Intelligence®（2025年7月時点）をもとに医薬産業政策研究所にて作成
左) 原薬工程、右) 製剤工程

4. まとめ・考察

本稿では、Evaluate社のデータベース（CDMO Intelligence®）を用いて各国のCDMO企業数と各企業が提示する受託サービスを図示し、日本と他の主要な創薬国における CDMO の利用環境について考察を試みた。冒頭で言及したとおり CDMO 企業数が直接的な製造能力を示すわけではないため、各国の製造能力については本稿では議論しない。一方、製造や技術開発を委託する側の立場では、CDMO企業数が多いほど委託先を検討する際の選択肢が多くなることから、本稿では企業数をベースに分析、考察した。

3-1で示したとおり、本国籍別の CDMO 企業

数は米国が最多であった。中には米国に本社を置く他国由来の企業も見られ、創業の中心地は米国であるという状況が CDMO 企業数からもみられた。

3-2では、主要な創薬国として米国、ドイツ、中国、フランス、イギリス、日本、スイス、韓国の8か国について自国内に事業所を置く CDMO 企業数を国別にカウントしたところ、日本は6番手であり欧米各国や中国より少なかった。本稿では各 CDMO のもつ各製造施設の立地条件については考慮しておらず、また通常は外国の CDMO への CMC 業務委託も一般的である。このため本稿の集計結果が直接的に良し悪しを示すものではな

いが、自国内に事業所を持つ CDMO が相手であれば細やかな相談がしやすいなど、自社内に製造関連リソースを持たない企業による医薬品開発や、新規モダリティに初めて参入するような医薬品開発において有利な点は多いと考えられるため、国別での CDMO 利用環境を比較する指標になると考えた。3-2の結果からは米国が圧倒的に有利であると考えられた。米国と同水準にすることは難しいとしても、日本の創薬力向上のためには米国以外の競合国以上に CDMO 企業数を増やすような投資がなされるよう期待したい。また図3に示したとおり、日本では外資 CDMO 企業数が他国と比較して少なかった。従業員1,000人超の大型 CDMO の本社国籍所在地は図2のとおり米国、インド、中国に集中していたが、各国に事業所を置く CDMO 企業数としてはドイツ、フランス、イギリスなど欧州の主要な創薬国で30社以上となり、大規模 CDMO がこれらの国に事業参入していた。日本に事業所を置く大規模 CDMO 企業数は16社であったが、うち6社は本社を日本に置く企業であり、外資企業の参入は現状少ない。外資 CDMO の窓口拠点だけでも日本国内に誘致できれば、外国の製造拠点へのアクセスも向上すると考えられるため、外資企業の誘致も有用と考えられる。

3-3および3-4では各企業が提示する受託サービス別の CDMO 企業数を示した。製造関連の技術開発研究や治験薬製造といった前臨床段階および臨床段階の CMC 業務受託について、日本国内に事業所を持つ CDMO 企業数は他の主要創薬国に劣り、特に前臨床段階の CMC 業務をサービスとして提供している企業は少なかった。前臨床段階では米国についてイギリスが多く、これらの国々の創薬ベンチャーの活躍への寄与が示唆された。さらに抗体や ADC については前臨床段階の業務を受託する企業が日本国内には相対的に少なく、日本における CDMO 利用環境の課題点と言えるだろう。

臨床段階の CMC 業務受託企業については前臨床段階に比べて主要創薬国との企業数の差は小さいものの、日本国内に事業所を置く CDMO は55

社と少なかった。特に製剤工程を受託する企業や、抗体または ADC 原薬の CMC 業務を受託する CDMO が相対的に少なく、米国の10%程度であった。ドイツ、中国、イギリスには抗体または ADC 原薬の CMC 業務を受託する CDMO として30社以上が事業所を置いているが、ドイツ、中国、イギリスに本社を置く企業としても各国10社程度であった。これらの国々と比較しても、抗体または ADC 原薬については、この分野に対する日本全体としての支援が特に必要であると考えられる。

CDMO 委託を検討する際は、必要な設備の有無、製造スケールが適切であること、必要な時期に製造できること、品質担保の能力ほか様々な要素を勘案する必要があり、一方で各 CDMO の提供するサービスは各社各様であることから、委託先選定にあたって選択肢は多い方が望ましい。本稿の分析で日本国内に事業所を置く CDMO 企業数が他国より少ないことがわかり、自社に製造設備を持たない場合は海外 CDMO への委託を検討せざるを得ない状況が主要な創薬競合国より多いと考えられた。新規モダリティへの参入時や、ベンチャー企業などで CMC 開発に関する設備や人材などのリソースが十分揃わないケースでは、製品開発を進める際の通常の課題に加えて海外企業への業務委託に伴う課題が追加されることになり、医薬品開発全体の計画遅延につながるなど日本は不利な環境にあると言えるのではないかと考えられる。創薬エコシステムの一環として、CDMO の利用環境の補強が強く望まれる。

5. おわりに

本稿では CDMO 企業数をもとに、CMC 業務委託先となる CDMO の利用環境について考察した。その結果、日本国内に存在する CDMO 企業数は他の主要な創薬国と比較して少なく、特に抗体または ADC に関わるサービスを提供する企業数が主要創薬国と比較して少なかった。バイオ人材の育成など課題認識とその対応は着々と進められているところではあるが、本稿でも改めて現状を示すことができたと考えており、今後の動向に注視したい。

システマティックレビューからみた Patient-Reported Outcome Measure (PROM) 介入による利点と課題

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治
医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

要約

- 2020年以降で文献検索して得られた Patient-Reported Outcome Measure (PROM) 介入臨床研究のシステマティックレビュー、メタアナリシス5論文の概要について述べ、日常診療や臨床研究に PROM を実装する利点と課題について紹介する。
- 疾患横断的に PROM 介入効果を評価した臨床研究レビュー2編のうち、質的評価研究に限定したレビューでは、PROM介入に5つのキーベネフィットが示された。PROMを機能別に評価した研究レビューでは、PROMは症状スクリーニング、モニタリングに有用とし、疾患特異的 PROM でアウトカムの改善率が良好とされた。
- がん患者の PROM 介入臨床研究レビュー2編のうち、種々のアウトカムを評価した研究レビューでは、アウトカムの改善にはPROMデータの患者、医療者へのフィードバックが有用であることが示唆された。死亡、QOL等の健康関連イベントを前向きに検証した PROM 介入研究のメタアナリシスでは、PROM介入は死亡と12週目 QOL に有意な改善効果が認められた。
- これらの臨床研究レビューでは、診療にPROMを介入する意義が論じられているが、同時に PROM 収集に対する患者、医療者の懐疑的意見、双方にかかる負荷、潜在的バイアス、デー

タの信頼性等、日常診療へのPROMの実装には多くの課題があり、介入効果に限界があることも示された。

- こうした課題が指摘されているが、近年、国内でも PROM 介入臨床研究が進んでおり、また AI による患者の声の構造化技術も診療現場に一部導入され、PROMを診療に実装する意義への認識は高まっている。患者アウトカムの改善と医療技術開発の要素として「患者の声」を収集する価値が社会に理解されるためには、種々の課題解決に向けて産官学が議論、研究を重ね、協力して政策に反映させていくことが重要と考える。

1. はじめに

現在、産官学において医療への患者参画促進に向けた重要な要素と考えられている「患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome、以下、PRO)」について、我々は政策研ニュース No.75で、一つはFDA 公表資料を用いた臨床試験で使用された PRO 尺度 (Patient-Reported Outcome Measure、以下、PROM) の疾患領域毎の定量分析¹⁾、一つは主要国の PRO 導入臨床試験数の推移分析²⁾を報告した。これらの分析から、(新規) 薬剤介入による患者の症状の変化や体験を評価するための「臨床アウトカム評価 (Clinical Outcome Assess-

1) 医薬産業政策研究所「FDA 公表データからみたPatient-Reported Outcome (PRO) の使用状況」政策研ニュース No.75 (2025.7) <https://www.jpma.or.jp/opir/news/075/05.html>

2) 医薬産業政策研究所「Patient-Reported Outcome (PRO) の最新動向－臨床試験登録データベースを用いた調査・分析－」政策研ニュース No.75 (2025.7) <https://www.jpma.or.jp/opir/news/075/06.html>

ment, COA)」の一つとして、PRO が臨床試験のエンドポイントに組み込まれ、患者体験が医薬品開発に活用されるケースが増加傾向にあるとわかった。なおPROに関する詳細はニュースNo.75をご参照頂きたい。

がん臨床試験のメタアナリシスから、特定のPROMによる健康関連QOL (Health-related QOL, 以下、HRQoL) の自己評価値と患者の死亡転帰に統計的相関が認められ、転帰予測に有用であることは以前より継続的に報告されている^{3) 4) 5)}。具体的にはretrospective分析から、がん疾患特異的PROMであるEORTC QLQ-C30の使用は、がん患者の死亡イベント予測とイベントに関連する症状(疼痛や食欲不振等)への対応行動に寄与する可能性が高いと評価されている。

対して、患者に「PROMを使って自己の状態をレポートしてもらおう」という行為自体にベネフィットがあるか、については議論が残っている。患者に対するPROMによる自己評価の行動介入をprospectiveに評価した臨床研究は多々あるが、研究個別にみると介入の価値や効果に関する結論は様々である。

本稿では2020年以降で文献検索して得られたPROM介入臨床研究、臨床試験のシステムティックレビュー、メタアナリシス論文から本稿のテーマに適した内容の論文を抽出、政策研「価値評価チーム」メンバー3名で合意した5論文の概要について述べ、実臨床や臨床研究、臨床試験にPROMを実装する利点と課題について紹介する。なお、PROとPROMの用語については各原著の表記を優先している。FDAの“Guidance for Industry Patient-Reported Outcome Measures”(2009)によると、PROは症状やQOL等の患者が直接報告する健康状態に関するアウトカムであり、PROMはそれらPROを評価、測定するため

の尺度や質問票等のツールを示すとされる。また原著ではPROs、PROMsと複数形で表現されている箇所もあるが、本稿では単数形表記で統一している。

2. システムティックレビューの概要

(1)~(4)に、PROM介入臨床研究のシステムティックレビュー4編の概要を示す。疾患横断的にみたPROM介入効果の定性的評価、定量的評価の各レビュー2編、がん患者へのPROM介入効果を種々のアウトカムで評価したレビューと、死亡等のイベントを評価したメタアナリシスの2編である。各レビューはそれぞれ特徴的であるが、対象疾患、分析目的、対象とするアウトカム、解析方法が異なるので解釈を考慮する必要がある。最後に小児がん臨床研究のシステムティックレビュー1編(5)の概要を示す。

(1) Campbell R. et al. (2021)⁶⁾

実臨床におけるPROM使用経験を質的(定性的)に評価した臨床研究のシステムティックレビューである。質的研究に限定した理由として、患者と医療者の両者のPROMに対する視点、認識を深耕することで、実地臨床のPROM使用の利点と限界が明らかにされうるとあった。当レビューは国際的に用いられる“システムティックレビュー/メタアナリシス推奨報告項目(the Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses; PRISMA)”2009年度版と、英国の“レビュー/情報発信センター(Centre for Reviews and Dissemination; CRD)”のガイドラインに従って抽出、評価したとしている。また各研究論文の質は、“質評価研究報告のための統合基準(the Consolidated Criteria for Reporting Qualitative research (COREQ) checklist)”を用いて

3) Quinten C. et al. Lancet Oncol.10 : 865-871 (2009)

<https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1470204509702001>

4) Ediebah D.E. et al. Cancer 124 : 3409-3416 (2018) <https://acsjournals.onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/cncr.31556>

5) Lim L. et al. Lancet 82 : 103153 (2025)

[https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370\(25\)00085-9/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370(25)00085-9/fulltext)

6) Campbell R. et al. Quality of Life Research 31 : 1597-1620 (2022)

<https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-021-03003-z>

2名のレビューが独立して評価し、採点結果が合意に達するまで議論し結論を出すというプロセスを経たとあった。

各種文献データベースから2021年5月までで定義した検索条件で抽出された2,388件の論文のうち、最終的に当レビューの目的に合致した50のPROM介入臨床研究に関する52論文が基準を満たした。研究対象とした施設もしくはケアからみた研究数は、プライマリーケアが22、病院が9、外来クリニックが9、緩和ケアが4、複数環境が5、その他が1であった。PROM介入の価値／効果の評価視点から研究を分類すると、医療者視点が26、患者視点が7、両方が17であった。PROMの収集手段は、電子報告によるPROM（以下、ePRO）が26、紙記載PROMが12、二者択一4、タイプの記載無し8であった。これら研究ではがん、糖尿病、心臓血管疾患等、多様な患者群を対照として様々なPROMが使用されていた。

レビューの結果、PROMを導入することにより以下の5つのキーベネフィット ①積極的な患者参画、患者とのパートナーシップの構築 ②コンサルテーションの焦点の精度向上 ③医療ケアの質の向上 ④患者アウトカムのモニタリングの標準化 ⑤患者－医療者間の関係強化、が抽出されたとしている（表1）。それぞれ具体的には、①患者、医療者がともに更に現状を認識し熟考を可能

とする、患者の治療参画を促進する、患者と医療者間で治療目標の設定が円滑になる等が具体的なベネフィットとして記載があった。②ではPROMが疾患スクリーニングを補助するツールとなる、患者のニーズの優先順位付けを容易とする、③は診断の補助として活用できる、個別化ケアの実現に有用である、全人的ケアの実践を確実にする、医療者に患者にとって必要な対応に繋げることができる、④は治療効果と副作用の判断に活用できる、症状の変化や病状の進行のモニタリングに活用できる、⑤は医療者が提供するケアに対して患者に安心を与えることに役立つ、PROMによって患者への関心を示すことができ関係が強化される等が示されていた。

同時にPROM効果の限界として以下が挙げられていた。①では（例えばうつ病の診断等では患者が望まない治療を避けるために）PROMで正直な回答が得られないケースがある等、②ではPROMによって重要ではない主張に引っ張られ優先度の低い診療課題に対処しなければならなくなる懸念、PROMによる患者評価は患者の全体像の一部しか反映していない等、③では情報過不足による不正確、憶測での患者の抱える問題に対する認識、意思決定へのPROM利用に患者自身が気づかない、患者からの医療者への過度な期待の懸念、⑤ではPROMが形式的であるために却って親

表1 PROM介入臨床研究のシステマティックレビュー：定性的にみた利点と限界

	キーベネフィット	具体的なベネフィット	リミテーション
①	積極的な患者参画、患者とのパートナーシップの構築	・患者、医療者ともに更なる現状認識と熟考を可能とする ・患者参画を促進する ・目標設定を円滑にする ・デリケートな議論をすることを（患者に）容認してもらえる	・正直な回答が得られないケースがある
②	コンサルテーションの焦点の精度向上	・疾患スクリーニングの補助として活用できる ・患者ニーズの優先順位付けを可能とする	・重要ではない主張に引っ張られる懸念 ・（PROMは）患者の全体像の一部しか反映していない
③	医療ケアの質の向上	・診断の補助として活用できる ・個別化ケアを実現可能とする ・全人的ケアを確実にする ・医療者に患者にとって適切となる対応に繋げる	・情報過不足による不正確、憶測での患者の問題認識 ・意思決定へのPROM利用に患者自身が気づかない ・患者からの医療者への過度な期待の懸念
④	患者アウトカムのモニタリングの標準化	・治療効果と副作用の判断に活用できる ・症状の変化や病状の進行のモニタリングに活用できる	
⑤	患者－医療者間の関係強化	・医療者が提供するケアに対して安心を与える ・PROMによって患者への関心を示すことができ関係が強化される	・（形式的なため）逆に親密な関係構築ができない ・逆に医師との会話が欠如する懸念
			・（PROMは）臨床的意味のあるほど具体的ではない ・余計な情報まで与える懸念 ・すべての患者に適しているとはいえない（高齢者等）

引用6）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

密な関係構築ができない、逆に医師との会話が欠如する懸念、その他、PROMによる評価は臨床的な意味を示すほど具体的ではないとする意見や患者に余計な情報まで与える懸念、高齢者等すべての患者に適しているとはいえないとする意見等が挙げられていた。

患者と臨床医、双方の視点から臨床におけるPROMの導入に利点を示した一方、限界も指摘されていることから、著者らは実地診療において患者の転帰改善の手段としてPROMが認識されその使用が普及されるためには、これら限界への対処に向けて更なる研究が必要だとしている。

(2) Bonsel J.M.et al. (2024)⁷⁾

PROM データは患者個人の健康のためのみならず、医療者や保険者、政策決定者に情報をフィードバックすることで、医療機関で提供される医療技術レベルの把握と改善、医療資源の不足を把握しそれを充足させる等の政策レベルの意思決定にも活用される。このシステマティックレビューはマイクロレベル（患者個人）、メゾレベル（患者グループ）、マクロレベル（地域、社会）の観点で実施されたPROM介入臨床研究からPROMデータの近年の応用事例を特定し、PROMの「機能」別

に得られたエビデンスを統合、種々のアウトカム改善に関連したPROMの介入手法の特徴を明らかにすることを目的としている。なお、ここでの「機能」はPROM介入が設定した患者アウトカムに影響を及ぼす仕組み（mechanism）を指す。

当レビューはPRISMAガイドライン（2020年版）に従って抽出され、2名のレビューヤーが独立に“the Effective Public Healthcare Panacea Project’s Quality Assessment Tool for Quantitative Studies”を用いて各研究の質を定量的に評価したとあった。各評価ドメインで点数が付けられ、weak point数に応じて三段階（0、1、2以上、低い方が高質）で総合評価された。複数のデータベースを用い2023年8月までで定義した検索条件で抽出し、重複を除いた11,121論文をスクリーニングした結果159件が該当、その中から比較対象群の有無等の条件で選択し57件の論文が抽出された。引用論文のトラッキングから新たに21件の論文が追加され、最終的に76件の臨床研究、78論文が基準を満たした。

記載された結果は多様であったため、ここでは最も研究数の多かったマイクロレベル（患者個人）研究の分析結果を示す(表2)。設定された患者アウトカムはPROM介入臨床研究毎に様々あり、例

表2 PROM介入臨床研究のシステマティックレビュー：機能別、タイプ別にみた評価

		PROM介入研究数	アウトカム改善が示された研究数/割合(%)	試験の質の平均点数*2
PROMの機能	患者への(直接)フィードバック	5	1/(20)	1.8
	医療提供者へのフィードバック	18	9/(50)	1.9
	(症状)スクリーニング	14	10/(71)*1	2.0
	(症状)モニタリング	25	18/(72)	1.9
	フィードバックなし(患者は報告のみ)	3	3/(100)	2.3
	意思決定の補助	3	3/(100)	1.7
PROMのタイプ	疾患特異的評価尺度	55	39/(71)*1	2.0
	汎用的評価尺度	4	1/(25)	1.5
	上記の組み合わせ	9	4/(44)	1.9

* 1 1試験で悪化が示された * 2 reviewerによる総合評価 weak point数に応じて三段階（0、1、2以上）引用7)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

7) Bonsel J.M. et al. Health and Quality of Life Outcomes 22 : 101 (2024) <https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-024-02312-4>

表3 PROM 介入臨床研究のシステマティックレビュー：疾患・ケア領域別にみた評価

		PROM 介入試験数	改善効果が示された 試験数／割合 (%)	試験の質の 平均点数*2
PROM 介入試験の 疾患・ケア領域	心臓疾患	4	2/(50)	2.0
	コミュニティケア	2	1/(50)	1.0
	皮膚疾患	1	1/(100)	2.0
	消化器疾患	5	4/(80)	2.2
	一般市民	1	1/(100)	2.0
	手術一般	2	2/(100)	3.0
	婦人科疾患	1	0/(0)	2.0
	周産期ケア	1	1/(100)	2.0
	悪性腫瘍疾患	19	13/(68)	1.9
	整形外科疾患／外傷	6	6/(100)	2.2
	小児疾患	2	1/(50)	2.0
	プライマリーケア	17	10/(59)*1	1.7
	精神疾患	1	0/(0)	2.0
	呼吸器疾患	1	0/(0)	2.0
	リハビリテーション	1	0/(0)	2.0
リウマチ性疾患	4	2/(50)	2.0	

*1 1試験で悪化が示された *2 reviewerによる総合評価 weak point 数に応じて三段階（0、1、2以上）
引用7）をもとに医薬産業政策研究所にて作成

例えばがん患者対象研究では、「死亡」、「救急外来受診、再入院の減少」等のイベントから「身体的、精神的、社会的機能の改善」や「うつ症状やがん随伴症状の改善」、「適切な医療的ケアを受けた経験」等、多様であった。まず、「患者アウトカムに改善あり」とした研究数が半数以上を占めた PROM の機能は、「医療提供者へのデータフィードバック(9/18)」、「症状スクリーニング(10/14)」、「症状モニタリング(18/25)」であった。また少数であるが、患者にフィードバックしなかったがアウトカム改善が認められた(3/3)、患者の意思決定支援(3/3)で有効割合が高かった。

使用された PROM のタイプは「疾患特異的尺度」が55研究と最も多く、PROMの介入でアウトカムが改善したとする研究は約7割であった。対してEQ-5D等の「汎用的健康評価尺度」単独の介入研究は4研究であり、アウトカム改善ありとした研究は1のみであった。疾患特異的と汎用的尺度の組み合わせは9研究あり、改善ありとした割合は44%と汎用的尺度単独の研究よりも高かった。疾患領域別にみると、「悪性腫瘍」、「プライマリーケア」、「整形外科／外傷」、「消化器疾患」の順で多く、これら領域でのPROM介入によるアウトカム改善効果は相対的に高かったことが示され

PROM との親和性の高い疾患領域であることが推察された(表3)。また PROM データの医療提供者へのフィードバックは患者の異常を知らせ最適な対応に結び付くケースが特にアウトカム改善に有効であり、このようなケースとしてうつ病、悪性腫瘍、消化器疾患領域でデータフィードバックの有効性が示されたとしている。

著者らは PROM 介入の臨床研究が成功しない理由として以下の点を述べている。第一に、「汎用的健康評価尺度」単独の介入では、医療者が治療対応や治療変更に結び付く洞察や情報を十分に得られない点を挙げている。第二に、PROM介入は一般的な健康認識の向上や症状の負荷改善というアウトカムには顕著に影響を与えるものの、QOL改善や生存延長等のイベントアウトカムへの影響はさほど強くない傾向があるという点を示している。他には、患者が医療者と症状について話し合うことに抵抗がある、医療者が十分に時間を持てず継続できない、医療者にPROMに関する知識が不足しているために実行に移せない等を理由として推察している。

最後に著者らは、PROM介入効果を実証する臨床研究の質はまだ十分とは言えず、対照とする治療の定義や介入方法の精緻化、標準化が更に必要

表4 がん患者を対象とした PROM 介入臨床研究システマティックレビュー：項目別評価

試験	発表年	対象	生存率／生存期間	合併症コントロール	HRQoL	患者満足度	医療者／医療施設との関わりを評価した指標
1	2000	肺がん	—	—	n.s.* ¹	n.s.	有意に改善
2	2002	がん（治療期）	—	—	有意に改善（2項目）	有意に改善（1項目）	有意に改善（2項目）
3	2004	がん（治療期）	—	—	有意に改善	—	改善傾向
4	2006	緩和ケア	—	有意に改善（2症状）	—	—	—
5	2007	乳、肺、大腸がん（化学療法）	—	—	n.s.	n.s.	n.s.
6	2008	がん（治療期）	—	—	n.s.	n.s.	有意に改善（1項目）
7	2009	肺がん（切除不能）	—	有意に改善（1症状）* ²	—	—	—
8	2009	乳、肺、大腸がん（化学療法）	—	—	有意に悪化（1項目）	n.s.	n.s.
9	2010	がん（治療期）	—	—	—	改善傾向	有意に改善（1項目）
10	2011	がん	—	有意に改善（1症状）	n.s.* ³	—	—
11	2011	がん（治療期）	—	—	—	—	有意に改善
12	2013	前立腺がん（治療後）	—	—	n.s.	改善傾向	n.s.
13	2013	がん（治療期）	—	—	n.s.	—	有意に改善
14	2016	有転移がん	有意に改善	—	改善傾向	—	有意に改善（2項目）
15	2019	緩和ケア	—	—	改善傾向（n.s.）	—	—

* 1：2項目はコントロール群で有意な改善 * 2：手足症候群はコントロール群で有意に少なかった * 3：両群ともに有意な改善
引用8)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

だとしている。しかし日常診療へのPROM実装には様々な課題があるとしながらも、複数の先行研究で、PROMによって患者が自身の状態を認識する力が養われ、自身の治療への積極的な参画をエンパワーメントする可能性があるとしてPROMの有する価値を述べている。当レビューの結果でも、PROMは患者の転帰について医療者に重要な情報と洞察を与え、適切な医療対応に繋げる効果を高めることが示されており、PROMは現代医療における重要な役割の一端を担っている、としている。

(3) Graupner C. et al. (2021)⁸⁾

PROM 介入試験に悪性腫瘍患者を対象としたものが多いことは先のレビュー(2)で示されていたが、ここに示すものはがん診療でのPROM介入効果を検証した臨床研究に特化したレビューである。当レビューは、がん患者のPROM介入群と非介入群を比較した研究と、PROM介入研究の中で患者および／または医療者へのフィードバックの有無で群間比較した研究を対象としている。当レビューはPRISMA（2009年度版）ガイドラインに

従って実施されたとあった。1998～2018年で定義した条件で複数のデータベースから検索した8,341件の報告と追加8報告を3名の研究者でスクリーニングを実施し、22件の研究論文がレビューの対象となった。

種々のアウトカムが設定されたPROM 介入臨床研究22件のうち、PROM非介入群を対照とした15研究のレビューの結果、PROM介入は各アウトカム項目で有益とした報告が多かった(表4)。「有意に改善」は非介入群に比して介入群で設定アウトカムすべて、もしくは一部に有意な改善、「改善傾向」は統計解析の説明はないが介入群でアウトカム改善が非介入群よりも良好と表現、「改善傾向(n.s.)」は有意差はないが介入群で良好と表現、「n.s.」は有意差なし(not significant)である。この中の14研究は患者および／または医療者へのPROM データのフィードバックを実施していた。表にはないがPROM 介入研究において患者・医療者へのデータのフィードバックの有無でみた群間比較は7研究あり、そのうち症状への影響を評価した5研究ではフィードバック有群で有意な改善が認められたものは1研究、患者満足度を評価し

8) Graupner C. et al. Supportive Care in Cancer 29 : 573-593(2021)
<https://link.springer.com/article/10.1007/s00520-020-05695-4>

た2研究では有意な増加が認められたものは1研究であった。患者と医療者（医療機関）との関係性を評価した6研究では、統計的有意を問わずフィードバック有群で改善と表現した研究は5であった。

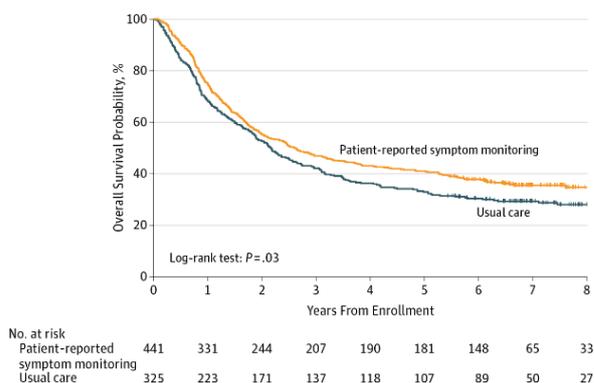
著者らは、がん患者におけるPROM介入研究は検出力不足が多かった点を課題として挙げていた一方、患者および／または医療者へのPROMデータをフィードバックすることでより肯定的な効果が確認されたことから、フィードバックを強く推奨する、としている。

(4) Balitsky A.K.et al. (2024)⁹⁾

がん治療を受けている固形腫瘍、血液腫瘍患者を対象としたPROM介入ランダム化臨床試験のシステマティックレビューとメタアナリシスの更新結果が2024年に報告された。このレビューはPRISMA（2020年度版）ガイドラインに従って実施された。2012～2022年の期間で複数のデータベースを用い定義条件で検索した結果9,662件の論文が抽出され、引用論文1件を追加のうえ8名のレビューヤーがペアとなり独立してスクリーニングと精査を行い、裁定者を含め45件の研究論文が採択された。このうち27研究が化学療法を受けている患者が対象であった。各アウトカムに対するメタアナリシスのエビデンスの質は国際基準である“Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation；GRADE”に準じて評価された。

このメタアナリシスではイベント発生率を検証した臨床研究が選ばれており、レビュー(2)と(3)でも採択されたBasch E. et al. (2016, 2017) のePRO介入によるがん患者の延命効果を評価したランダム化臨床研究^{10) 11)}が含まれる。この研究は、化学療法中の4種のがん患者766名の患者がePRO介

図1 化学療法を受けているがん患者へのPROM介入による生存に対する影響



引用11) より

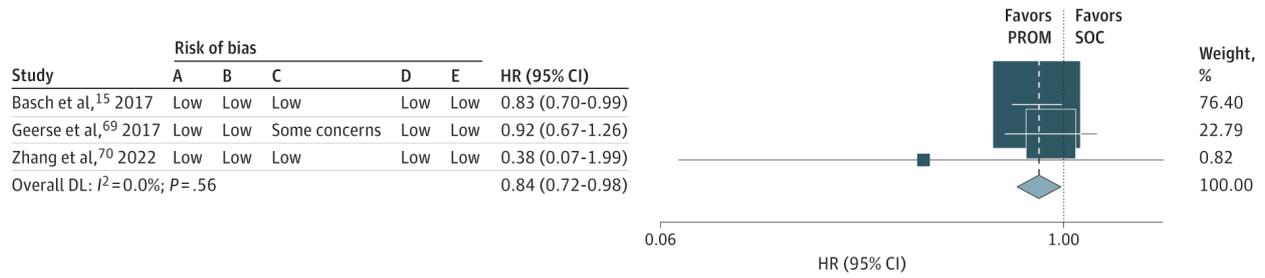
入の有無で2群に無作為割付され、中央値約7年の追跡の結果、介入群で有意な生存期間の延長が認められたとするものである(図1)。これに加えPROM介入による生存率への影響を評価した3研究がメタアナリシスに採用された。分析の結果、研究は少数だがPROM介入による有意な生存率向上が確認され (Hazard Ratio 0.84, 95% CI 0.72-0.98, GRADE：Moderate)、がん患者へのPROM使用は延命効果をもたらす可能性があるとの見解が示された(図2)。尤もこの寄与効果は、試験患者数が最も多く有意な生存延長が認められたBaschらの研究結果の影響が大きいことが推察される。また、PROM介入によるHRQoLへの影響に関するメタアナリシスでは、がん特異的疾患尺度のEORTC QLQ-C30の介入研究において12週目の評価で有意なQOL改善効果が認められた (weighted mean difference 2.45, 95% CI 0.42-4.48, GRADE：Moderate)。しかしQLQ-C30介入の24、48週目評価(図3、GRADE：Low, Very Low)、汎用的評価尺度のEQ-5D介入の24週目評価(図なし、GRADE：Very Low)には有意な改善効果は認められなかった。また、救急施設への搬送、入

9) Balitsky A.K. et al. JAMA Network Open 7(8) : e2424793(2024)
<https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/fullarticle/2822297>

10) Basch E. et al. J. Clin. Oncol. 34(6) : 557-565
https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2015.63.0830?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%20pubmed

11) Basch E. et al. JAMA 318(2) : 197-198(2017)
<https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/2630810>

図2 がん患者対象 PROM 介入臨床試験メタアナリシス：全生存率への影響



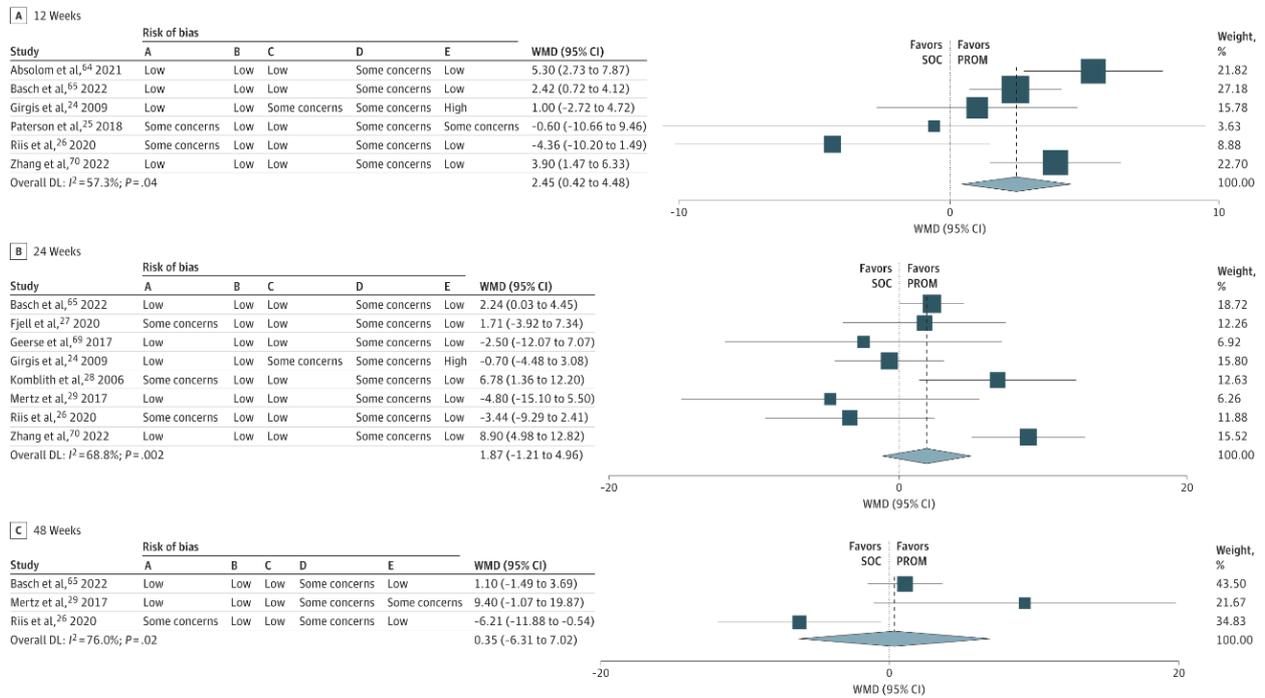
HR : hazard ratio

Risk of bias

A : random sequence generation B : allocation concealment C : masking of participants and personnel D : incomplete outcome bias E : selective reporting

引用9) より

図3 がん患者対象 PROM 介入臨床試験メタアナリシス：HRQoL への影響



WMD : weighted mean difference (重み付け平均差)

Risk of bias

A : random sequence generation B : allocation concealment C : masking of participants and personnel D : incomplete outcome bias E : selective reporting.

引用9) より

院イベントのメタアナリシスでは PROM 介入による有意なイベント減少効果は確認されなかった(図なし、GRADE : 両方とも Low)。

当レビューから PROM が生存延長と QOL 改善に関して有効とする一面が示され、PROM 収集により患者の症状変化とニーズを医療者が的確に把

握でき、問題に早期に対処することで患者の不良な転帰を回避することに寄与する可能性が示唆された、としている。一方、先行研究では PROM を記載する行為は患者が自身の症状への認識を高め、症状への対処について医療者と議論することに積極的になるとする反面、腫瘍専門医は身体

症状の管理には慣れているものの、QOLやメンタルヘルスに関連する問題への対処には慣れていないことが示されていたとあり、がん患者の日常診療にPROMを導入することに対する課題を示している。しかしながら、PROM介入の各種研究から患者のベネフィットとなるエビデンスが示されており、がん診療にPROMを導入することは重要な意義があり、標準的で高質のアウトカム測定が可能となるPROMを日常診療に組み込むためには更なる研究が必要であるとしている。

(5) Rothmund M. et al. (2022)¹²⁾

当レビューは小児がん患者に対する支持的医療 (supportive care) の介入臨床試験のシステマティックレビューである。厳密にはPROM介入臨床試験のレビューではないが、症状や苦痛を緩和するための支持的介入において患者のQOL評価は重要な測定項目と考え、小児疾患領域でのPROM使用の現状について理解を深めるため本稿で採択した。

欧米の臨床試験データベースより2007年1月以降に開始された小児がん患者の支持的介入臨床試験から定義条件で検索した4,789研究から、3名のレビュワーが適格性を評価し229研究が対象となった。このレビューはPRISMA (2015年度版) ガイドラインに準拠したとあった。医学的介入は「薬剤」(全身または局所投与)と「処置」(疼痛緩和、放射線、超音波、外科的を含む)に分類、行動介入は「教育的・心理的・社会的」と「身体的」(運動等)に分類し、食事療法等の上記に含まれない介入は「その他」として分析している。

表5に229件の小児がん患者に対する支持的介入試験数の内訳とPROM使用割合の抜粋を示す(差のあった項目)。群間のPROM使用割合は χ^2 testで統計解析され(信頼区間95%)、 Φ/V はeffect sizeを示す。地理的分析では北米49%、欧州20%、アジア7%、国際共同6%であり、そのうち何らかのPROMが使用された試験割合は北

米49%、欧州56%、アジア35%、国際共同21%であった($p=0.053$)。単施設試験63%、多施設国際共同11%であり、PROM使用割合は前者47%に対して、後者は21%であった($p=0.032$)。アカデミア主導試験は88%を占め、残りは企業主導試験であった。アカデミア主導ではPROM使用割合が48%であったことに対して、企業主導では19%と有意差が認められた($p=0.004$)。

腫瘍タイプでみると、固形と血液腫瘍両方を対象とした試験が48%と約半数を占め、PROM使用割合は55%であった($p=0.004$)。介入タイプでみると、「薬剤」が47%と最も多く、「処置」6%、「身体的」行動介入18%「教育的・心理的・社会的」行動介入21%であった。PROM使用割合はそれぞれ22%、29%、68%、79%であり、介入のタイプによって使用に有意な偏りが認められた($p<0.001$) (表5、図4)。二項ロジスティック回帰による多変量解析で、小児がん支持療法の臨床試

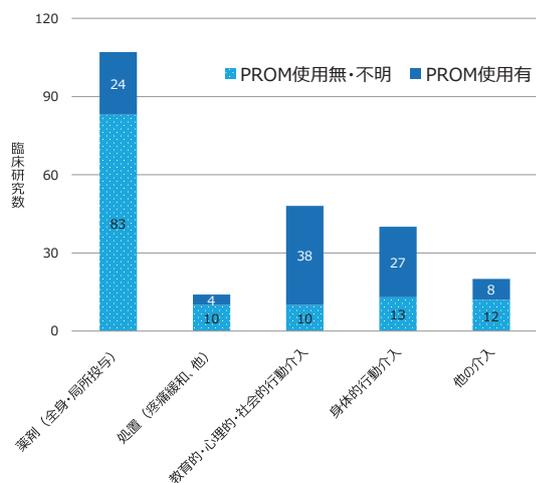
表5 小児がん患者 支持療法介入試験のPROM使用割合 (抜粋)

	合計 (%)	PROM無 (%)	PROM有 (%)	p	Φ/V
地域				0.053	0.209
北米	113 49.3	58 51.3	55 48.7		
欧州	45 19.7	20 44.4	25 55.6		
アジア	17 7.4	11 64.7	6 35.3		
国際共同	14 6.1	11 78.6	3 21.4		
他	25 10.9	18 72.0	7 28.0		
欠損	15 6.6	10 66.7	5 33.3		
試験実施施設				0.032	0.180
単施設 (同一国内)	144 62.9	76 52.8	68 47.2		
多施設 (同一国内)	44 19.2	21 47.7	23 52.3		
多施設 (国際共同)	24 10.5	19 79.2	5 20.8		
欠損	17 7.4	12 70.6	5 29.4		
試験主導者				0.004	0.188
アカデミア	202 88.2	106 52.5	96 47.5		
企業	27 11.8	22 81.5	5 18.5		
がん種				0.004	0.222
固形がん	53 23.1	32 60.4	21 39.6		
血液がん	67 29.3	47 70.1	20 29.9		
固形がん+血液がん	109 47.6	49 45.0	60 55.0		
介入タイプ				<0.001	0.507
薬剤 (全身・局所投与)	107 46.7	83 77.6	24 22.4		
処置 (疼痛緩和、他)	14 6.1	10 71.4	4 28.6		
教育的・心理的・社会的行動介入	40 17.5	13 32.5	27 67.5		
身体的行動介入	48 21.0	10 20.8	38 79.2		
他の介入	20 8.7	12 60.0	8 40.0		

総試験数 229 Φ/V はeffect sizeを表す
引用12)をもとに医薬産業政策研究所にて作成

12) Rothmund M. et al. Critical Reviews in Oncology / Hematology 176 : 103755 (2022)
<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1040842822001792?via%3Dihub>

図4 小児がん患者 支持療法介入試験のPROM使用割合：介入タイプ別



引用12) をもとに医薬産業政策研究所にて作成

験に PROM が導入される可能性を各群で予測したところ、血液がん単独試験、薬剤介入試験で導入の可能性が有意に低かった (ともに $p < 0.05$ 、表なし)。

著者らはレビュー結果から、小児がん患者に対する支持的介入試験の問題として ①支持療法の目的の大半は QOL 改善であるはずにも関わらず PROM 使用割合は著しく低かった ②試験数は経年的に増加傾向にあるものの PROM 導入割合にほとんど変化がなかった ③薬剤介入試験が多くを占めているにも関わらず PROM 導入率は極めて低かった等を挙げている。

先行研究から、小児、青年患者に対しては身体的のみならず心理的苦痛を含め多面的な評価が必要とされるが、現在利用可能な小児がん患者用の PROM は心理評価が不十分であり小児 PRO 研究は遅れている、と述べている。年齢や認知能力に応じて小児患者の状態を医療者や親等の介護者が評価し情報を補完することは必要である (Clinician-reported outcome、Observer-reported outcome)。しかし代理者による報告のみでは小児患者の心理面の負荷に関する情報が十分に得られず

QOLが過小評価される可能性があると考え、PROは他者には得られない小児患者の主観的経験に関連する情報を深く知る唯一の手段であるため、支持的介入臨床試験への PROM 導入は例外なく標準とすべきだ、としている。

3. まとめと考察

4 編の PROM 介入臨床研究のシステマティックレビュー／メタアナリシスと、1 編の小児がん臨床研究における PROM 使用状況に関するシステマティックレビューの概要を示した。総じて、臨床研究の定性的、定量的な分析から、診療における PROM 介入は患者アウトカムの改善に有用としている。細部を見ると、「患者に治療への積極的参画を促し、医療者との議論が活発になることで自身の健康意識向上に繋がる」、「PROMによる患者ニーズの把握は、医療対応の適切性や迅速性の向上等の医療の質向上に繋がる」、「PROM介入は患者の生存延長、健康関連 QOL の改善に寄与する可能性がある」、「PROMデータを患者、医療者にフィードバックすることは種々の患者アウトカムの改善に有用である」、「PROM介入によるアウトカム改善には、汎用的評価尺度よりも疾患特異的評価尺度において有用性が示唆される」等の点が示されていた。疾患特異的尺度と汎用的評価尺度のスコア間には統計的相関があるとする報告は種々の疾患領域の臨床研究^{13) 14) 15)}で示されながらも、2 編のレビューでは、統計的な差を示してはいないが、EQ-5D等の汎用的評価尺度と比べて疾患特異的評価尺度が患者アウトカムの改善効果に有用である可能性を示したことは注目された。

PROM 収集には課題も数多く指摘されている。個々の意見として「PROMデータは臨床的に意義のある情報ではない」、「PROMデータには情報過不足による不正確さが存在する」、「PROMでは患者から正直な回答が得られない⁶⁾」、「PROMを導入することで患者の健康関連 QOL が悪化した⁸⁾

13) Hagiwara Y. et al. Health Qual Life Outcomes 18(1) : 354(2020)

<https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-020-01611-w>

14) Gray L.A. et al. BMC Cancer 21(1) : 1237(2021) <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34794404/>

15) Esquinas C. et al. Qual Life Res 29(3) : 607-617(2020) <https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-019-02340-4>

といったPROMへの信頼に対する懐疑があり、がん診療におけるPROM収集に関するレビュー¹⁶⁾では「日常診療のPROMデータ収集、活用に発生する医療者の負担（業務量、時間、技術、責任）」、「医療機関の（ePRO）インフラの不十分さ」、「患者のPROMへの理解不足」、「患者のePRO入力操作の不慣れ」等の課題が示されている。また引用9の著者はインフラの不足に加え、「PROMデータ収集・活用に対する医療提供者に対するインセンティブ不足」を挙げている¹⁷⁾。PROM介入研究の課題としては、「バイアスリスクが高く検出力不足⁸⁾」、「収集方法、測定方法、アウトカム設定、実施タイミング、結果報告の方法等が標準化されていない^{9) 16)}」等が挙げられており、日常臨床にまでPROMを標準的に実装するためには数多くのハードルが存在する。また小児がん臨床試験のレビューでは、企業主導試験、薬剤介入試験でPROM使用が有意に少ないという指摘がなされており、医薬産業として振り返るべきポイントである。

診察室や日常生活の中で患者の「率直な」声を収集し構造化する技術開発は、これら課題解決に向けた重要な要素となる。現在、患者との会話を録音し、「SOAP」（S：主観的情報、O：客観的情報、A：評価、P：計画）のカテゴリーで患者情報を分類しカルテ作成をすることができる音声AIツールが開発されている¹⁸⁾。実際に日常診療に実装している施設の医師は、カルテ作成のみならず患者サポートや情報共有等の場で診療の効率化が図られているとしている。また疾患を限定すると、医師と患者との会話から認知症リスクの診断を支援する自然言語処理AIの開発が進んでいる¹⁹⁾。

近い将来これら技術が進歩すれば、従来の患者

サイドの課題であった小児や高齢者によるePROのタブレット操作技術の未熟さという問題から解放される。また医療者サイドの課題であるPROMの標準化については、AI音声もしくはAIガイドによってPROMを用いたデータ収集の手法を規格化することが可能となる。PROMデータの信頼不足については、会話形式による質問を交えることで患者から正直な回答が得られる可能性も高まる。結果、患者の声から得られた膨大な自然言語の非構造データがAIによって構造化され、医療技術間の比較に活用可能となり、新たな医療技術開発に向けたアウトカム改善の重要な指標の一つとなるであろう。

PROMの価値をマイクロレベル（個人）で考えると、「患者主体」の医療の取り組みの一つとして、「shared decision-making²⁰⁾（以下、SDM）：共有意思決定」の重要性が昨今高まっている。sharedは共同、協働と表現されているものも多い。これは医療者と患者の情報の非対称性に対する不安や不満が患者に生じないように、患者が自身の治療を自らの意思で選択するニーズを満たしながら、患者と医療提供者が何を重要視しているか、すべきかを互いに理解し、議論を経て治療方針を決定する合意形成のプロセスである。患者報告に基づいたSDMは治療満足度の向上に関連するとする報告²¹⁾、SDMによって治療の意思決定に対する葛藤の減少がもたらされたとの報告²²⁾がある。そのような場面で、「正確」に患者の状態を顕在化するPROMは、患者-医療者間で現状の相互理解に活用できると考えられ、重要なツールとしてSDMの一助となるものと考ええる。

マクロレベル（社会）に捉えると、世界の潮流では、現在OECD加盟国の多くがPROMの収集

16) Nguyen H. et al. J. Med. Radiat. Sci. 68(2) : 186-195(2020)

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8168064/#jmrns421-bib-0030>

17) Basch E. NEJM. 376 : 105-108(2017)

https://www.nejm.org/doi/10.1056/NEJMp1611252?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%200pu

18) Medical Data Vision 株式会社 プレスリリース (2025) https://www.mdv.co.jp/press/2025/detail_2543.html

19) 株式会社 FRONTTEO プレスリリース (2024) <https://www.fronteo.com/news/20240513>

20) 石川ひろの 医療と社会 30(1) : p77-89(2020) https://www.jstage.jst.go.jp/article/iken/30/1/30_30-77/_pdf

21) Shay L.A. et al. Medical Decision Making 35(1) : 114-131(2015) <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC4270851/>

22) Stacey D. et al. Cochrane Database Syst Rev. 4(4) : CD001431(2017) <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6478132/>

対象のスケールアップ、もしくはPROMを収集する対象疾患を拡大しており、PROMプログラムの実施主体は政府、病院、大学の順に多いと報告されている²³⁾。これらの国の多くは、官やアカデミアが収集した「患者の声」である PROM データを、提供された医療の「質」の評価と改善の指標として活用している。医療技術開発においては、企業が実施する臨床試験で得られた有効性、安全性の評価が最も重要なエビデンスであることは変わらない。しかしながらこの先、革新的な医療イノベーションが幾多も産み出されることが想定される。今後国内においても、患者に施される新たな医療技術の価値が、上市後に得られた医療情報に加え適正なPROMデータを含めて、継続的かつ「正確」に評価されるためのシステムを産官学が協力し構築していくことが重要と考える。

日常診療、臨床研究の場において患者の医療参画の考え方が普及し、リアルワールドで患者の声を収集することが常識となることは、個々の患者が求める「well-being」への理解が深まりSDMの意義を高め、医療の質向上に繋がる可能性が高ま

る。同時に、疾患や症状に応じて確度の高い標準化された健康関連 QOL 測定ツールを診療及び臨床試験で用いることが恒常的になることで、更なるイノベーションへの応用と正確な医療技術評価が可能となる環境が整う。有効性、安全性はもちろん、経済性評価においても然りである。

4. おわりに

近年、国内アカデミアによって ePRO インフラ開発研究、がん患者や HIV 患者等で ePRO 介入研究が実施されている^{24) 25)} ように、先述の環境の実現にはこれからも多くの議論、研究が必要である。産官学が PRO の価値を理解し、協力して患者の声を収集する価値に対する理解が社会に浸透するよう働きかけをしていくとともに、ゆくゆくは、疾患特異的かつ小児や高齢者等の各患者セグメントに対応する確度の高い PROM を診療の場実装する政策、PROM高機能化に向けた開発促進政策、PROMデータのアルゴリズム化と各種健康医療情報に連結する政策が一体となって推進されることを期待する。

23) OECD Health Working Papers No. 183 PROMoting quality of care through patient reported outcome measures (PROMs) : Systematic collection of PROMs for quality improvement and assurance in 38 countries (2025)
https://www.oecd.org/en/publications/promoting-quality-of-care-through-patient-reported-outcome-measures-proms_c17bb968-en.html

24) 厚生労働科学研究費補助金 行政政策研究分野 政策科学総合研究 (臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究) 「患者報告アウトカム (patient reported outcomes : PRO) の ICT 化と社会実装推進のためのガイドライン作成に資する研究」 (公開 2023.6) <https://mhlw-grants.niph.go.jp/project/161302>

25) 厚生労働科学研究費補助金 行政政策研究分野 政策科学総合研究 (臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究) 「PRO-CTCAE の日本語版の実臨床および臨床試験における有効性の評価」 (公開 2023.6)
<https://mhlw-grants.niph.go.jp/project/161311>

補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移 —2024年度薬価制度改革前後の動向（2025年8月までの調査）—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

要約

- 本稿では、公開情報である中医協資料等をもとに、補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移を調査し、2024年度薬価制度改革前後で傾向を比較した。政策研ニュースNo.73では2024年度途中の取載3回分のデータを分析したが、2024年度の取載が出そろった（計5回）こと、また、2025年度の取載も一部行われたことから、再度分析を試みた。
- No.73からの更新として、2024年度には追加で23品目が取載され、2025年度は現時点までに16品目の新有効成分含有医薬品が取載された。
- 2024年度薬価制度改革で充実が図られた各種加算制度の影響については、有用性系加算、市場性加算／小児加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（新薬創出等加算）に該当した割合は、制度改革前後で比較すると改革後で高い傾向が見られたことは前回調査と同様であった。
- 一方、2024年度についてはNo.73で報告した年度途中の解析に比べて年間では該当割合の減少傾向が見られた。今回の調査で2025年度の各種補正加算への該当割合は、8月時点では高めの数値で推移していたが、2024年度の状態を踏まえると、1年を通じた傾向については今後の動向を注視する必要がある。

- 2024年度薬価制度改革で新設もしくは充実が図られた要件等に該当する品目は着実に増加してきており、有用性系加算で新設された項目については、すべての項目の該当事例がでそろった。

1. はじめに

日本における新医薬品の薬価は、「薬価算定の基準について」で規定されたルールに基づき決定される¹⁾。この新医薬品の薬価算定に関する制度は、これまで様々な変遷をたどっており²⁾、医薬産業政策研究所でも薬価制度改革の影響を分析し、政策研ニュースで報告している^{3,4)}。No.64では2018年度薬価制度抜本改革の取載時薬価への影響を分析し³⁾、No.73では2024年度薬価制度改革の取載時薬価のうち主に補正加算への影響を暫定的に分析、報告した⁴⁾。しかし、2018年度の抜本改革について一定期間経過後に分析したNo.64と異なり、2024年度の制度改革前後で調査したNo.73では、制度改革後の取載が3回分のみであったことから暫定的な分析にとどまっていた。今回、前回調査から1年が経過し、分析できるデータが増加したことから、更新を行うこととした。

2. 調査方法

調査は、概ね政策研ニュース No.73と同様の方

1) 「薬価算定の基準について」（令和7年2月19日付け保発0219第1号厚生労働省保険局長通知）
2) 医薬産業政策研究所、「医薬品がもたらす価値の変遷に伴う評価制度の課題」、ポジションペーパーNo.3（2024年10月）
3) 医薬産業政策研究所、「新薬の薬価取載状況－2018年度薬価制度抜本改革の取載時薬価への影響－」、政策研ニュースNo.64（2021年11月）
4) 医薬産業政策研究所、「補正加算を中心とした新医薬品の算定状況の推移－2024年度薬価制度改革後の取載3回分を含めた調査－」、政策研ニュース No.73（2024年11月）

法で実施した⁴⁾。具体的には、2018年4月から2025年8月までに新医薬品として収載された新有効成分含有医薬品について、収載時薬価に関する情報（薬価算定方式、補正加算、新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、新薬創出等加算））を、中央社会保険医療協議会（以下、中医協）「新医薬品一覧表」⁵⁾などから取得した。同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した。

なお、新薬創出等加算の該当性についてはNo.73からデータ収集方法を変更した。No.73では他の加算制度と同様に中医協資料の記載内容に基づいて分析したが、収載時の新薬創出等加算が中医協資料に記載されるようになったのは2018年8月収載以降であることから⁶⁾、中医協資料のみの調査ではすべてを集計しきれないと判断し、本稿ではそれ以前の収載（2018年4月、5月）については2019年度薬価改定時の新薬創出等加算品目のリスト⁷⁾から該当性を判断した⁸⁾。

薬価制度改革は2年に1度行われ、その都度種々の変更があるが、2018年度は抜本改革として特に大きな見直しがあり、中でも、補正加算と新薬創出等加算で大幅な制度変更があった³⁾。こうした2018年度抜本改革の影響については政策研ニュースNo.64で調査、分析済みであること、また、補正加算等の各種加算制度を含めた分析を行うには2018年度抜本改革以降の収載に限定する必要があると判断したことから、No.73では調査対象期間を2018年4月から2024年8月までとしていた。本

稿はNo.73の調査の更新を目的としていることから、前回と同様、調査対象期間は2018年4月以降とし、前回調査以降に収載された2024年度の2回分（2024年11月、2025年3月）と2025年度の4回分（4、5、7、8月）を対象に追加した。なお、最新年度の収載回数がNo.73（2024年度）に比べて本稿（2025年度）で1回多い理由は、新医薬品の承認タイミングの増加に伴い、収載時期もこれまでの年4回から7回に増加したためである^{9)・10)}。

今回の調査では、前回調査よりも最新年のデータを追加したものの、2024年度制度改革後の収載は1年5か月分（新有効成分含有医薬品69品目）にとどまり、制度改革前のデータ（2018～2023年度に収載された新有効成分含有医薬品243品目）と比べて期間・数ともに少ない。したがって、本稿は2024年度薬価制度改革が補正加算を中心とした算定状況に及ぼした影響を2025年8月時点のデータをもとに行った調査・分析であることを事前に提示しておく。

2-1. 算定方式

新有効成分含有医薬品が該当する算定方式は、主に類似薬効比較方式と原価計算方式である⁴⁾。類似薬効比較方式には（Ⅰ）と（Ⅱ）があるが、類似薬効比較方式（Ⅱ）は補正加算の対象外となるため、補正加算以降の分析は、類似薬効比較方式（Ⅰ）と原価計算方式に限定して調査した。

- 5) 中央社会保険医療協議会、資料、厚生労働省、https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-chuo_128154.html（参照：2025/10/01）
- 6) 中央社会保険医療協議会 総会（第398回）、議事録より抜粋「前回の新薬の薬価収載の議論の際に、新薬創出等加算の対象となる医薬品がわかるようにできないかといった指摘があったことを踏まえまして、本日用意した総-2-1におきましては、（中略）新薬創出・適応外薬解消等促進加算に該当するか否か（中略）わかるように記載させていただいている」、https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000205879_00037.html（参照：2025/10/01）
- 7) 厚生労働省、令和元年度診療報酬改定について、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算対象品目リスト」<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000538498.pdf>（参照：2025/10/01）
- 8) 医薬産業政策研究所、「日本先行承認された新医薬品の特徴-薬価算定状況等の観点からの調査・分析-」、政策研ニュースNo.74（2025年3月）
- 9) 「新医薬品の承認時期について」（令和6年4月24日付け医薬薬審発0424第1号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- 10) 中央社会保険医療協議会 総会（第589回）、議事録より抜粋「こちらは、新薬の承認時期に関しまして、医薬局から通知が出ているものでございます。（中略）これにより、年7回の薬事承認が予定されております。これを受けた薬価収載に関しまして、従来、現状としては年4回の収載で運用しているものでございますが、（中略）収載頻度も増加させて年7回とすることで、より迅速に薬事承認、薬価収載の手続きができるようにしたいと考えているものでございます。」、https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_41786.html（参照：2025/10/01）

2-2. 補正加算

新有効成分含有医薬品が収載時に該当する可能性がある補正加算は、有効性や安全性等の観点で革新性・有用性を評価する加算である有用性系加算（画期性加算、有用性加算（Ⅰ）、有用性加算（Ⅱ））、市場規模が小さいが医療上の必要性が高い医薬品等を評価する加算（市場性加算（Ⅰ）、市場性加算（Ⅱ）、特定用途加算、小児加算）、日本への早期上市のインセンティブとして設けられた加算（先駆加算、迅速導入加算）があり、2024年度薬価制度改革において多くの変更があった。具体的には、補正加算のうち有用性を評価する加算である有用性系加算への要件追加、市場性加算や小児加算での加算率の柔軟な運用、日本への早期導入に関するインセンティブとしての迅速導入加算の新設、さらには収載後の薬価の維持に関する制度である新薬創出等加算の対象品目の追加がなされた⁴⁾。本稿は、こうした制度変更の影響について調査したNo.73を更新したものである。

3. 結果

3-1. 算定方式の現状

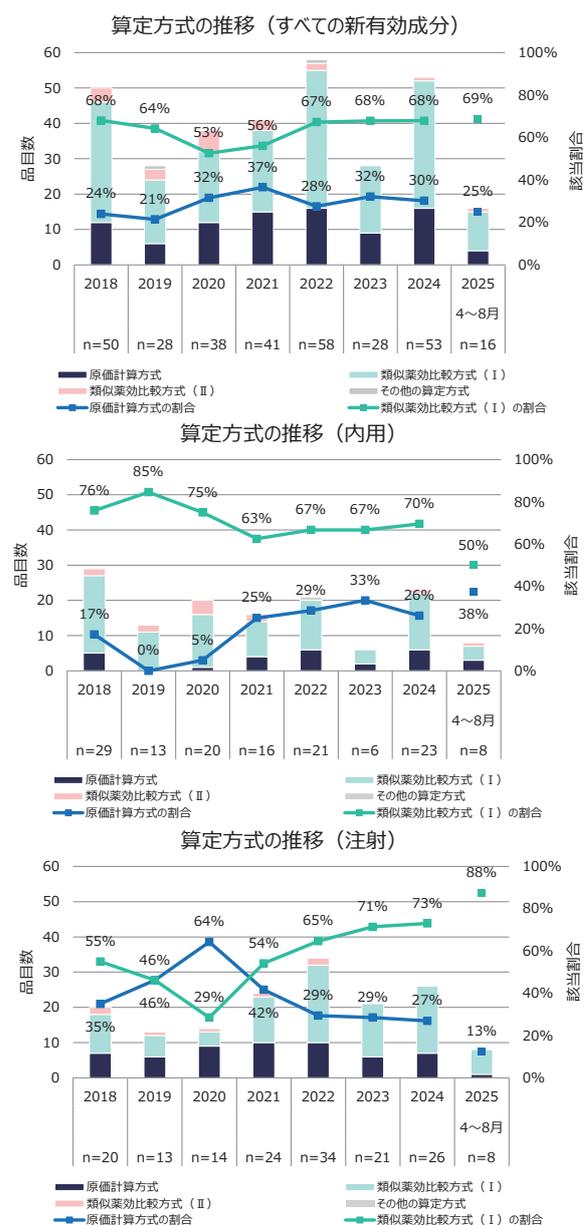
① 算定方式の割合（新有効成分含有医薬品）

2018～2025年度（2025年度は4月、5月、7月、8月の4回分）に収載された新有効成分含有医薬品に用いられた算定方式について、類似薬効比較方式（Ⅰ）と原価計算方式の医薬品数とその割合を調査した。その結果、年度によって多少の変動はあるものの、近年は概ね類似薬効比較方式（Ⅰ）が6～7割、原価計算方式が2～3割程度となっていた（図1）。2025年度の4回分の収載でも類似薬効比較方式（Ⅰ）が69%（11/16）、原価計算方式が25%（4/16）と昨年度までと同様の傾向を示していた。また類似薬効比較方式（Ⅱ）は、2021年度までは年3品目以上あったが、近年は減少傾向が見られた。

② 算定方式の割合（投与形態別）

投与形態別に見ると、これまでは内用薬より注射薬で原価計算方式の割合が同等もしくは高い傾向にあったが、2025年度（8月収載まで）では、

図1 新有効成分含有医薬品の算定方式の年次推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として、中央社会保険医療協議会総会「新医薬品一覧表」に基づき調査した。その他の算定方式は特例等。

出所：2018～2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

内用薬では類似薬効比較方式（Ⅰ）：50%（4/8）、原価計算方式：38%（3/8）、注射薬では類似薬効比較方式（Ⅰ）：88%（7/8）、原価計算方式：13%（1/8）となり、内用薬の方が原価計算方式の割合が高い傾向が見られた。まだ年度途中で品目数も少ないため、今後の動向は注視する必要がある。

3-2. 補正加算等の現状

① 有用性系加算の現状

有用性系加算に関して、まずは該当状況を検討した。2018年度以降に記載された新有効成分含有医薬品について、画期性加算、有用性加算（Ⅰ）、有用性加算（Ⅱ）に該当した医薬品の割合を類似薬効比較方式（Ⅰ）と原価計算方式の算定方式別に調査した。その結果、有用性系加算の割合は、類似薬効比較方式（Ⅰ）では2018～2023年度が42%（64/153）のところ、2024年度以降（2025年は8月掲載まで）は55%（26/47）、原価計算方式では2018～2023年度が70%（49/70）のところ、2024年度以降（2025年は8月掲載まで）は95%（19/20）であった（図2円グラフ）。No.73で解析した2024年4～8月の状況（類似薬効比較方式（Ⅰ）：70%（14/20）、原価計算方式：100%（10/10））と比べると、今回解析した2024年4月～2025年8月の有用性系加算への該当割合は減少していたが、2024年度薬価制度改革前後で増加傾向が見られる点は

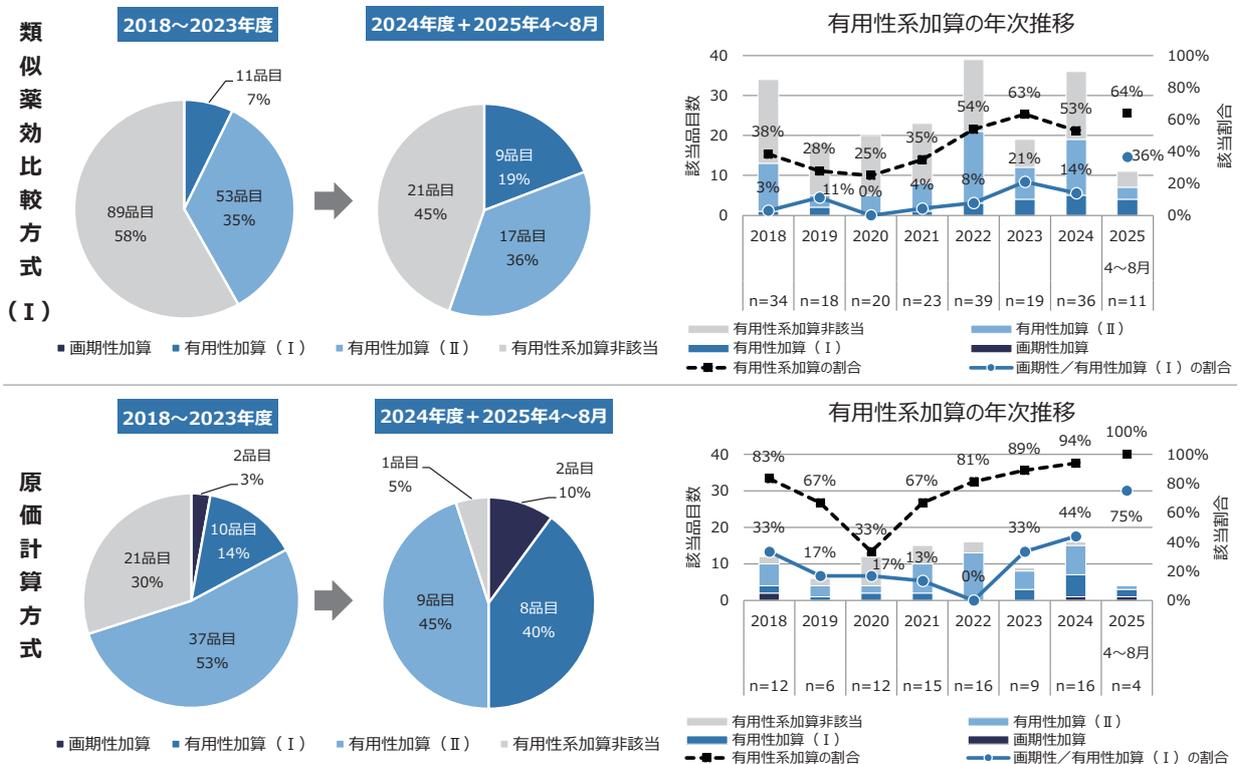
No.73と同様だった。また、有用性加算（Ⅰ）への該当割合の変化がいずれの算定方式においても顕著（類似薬効比較方式（Ⅰ）：7%（11/153）から19%（9/47）、原価計算方式：14%（10/70）から40%（8/20）、図2円グラフ）であったこともNo.73と同様であった⁴⁾。

年次推移を確認すると、年度途中で解析したNo.73と比較し、2024年度の有用性系加算への該当割合が主に類似薬効比較方式（Ⅰ）で大きく減少していた（2024年度4～8月（14/20）：70%⁴⁾、2024年度年間：53%（19/36）（図2棒グラフ））。

一方、2025年度は8月現在、いずれの算定方式でも調査期間中最も高い割合となっていた（図2棒グラフ、類似薬効比較方式（Ⅰ）：64%、原価計算方式：100%）が、上述の2024年度の傾向を踏まえると、2025年度の年間を通した傾向については今後の動向を注視する必要がある。

続いて、有用性系加算の加算率を検討した。有用性系加算該当品目の平均加算率は、画期性加算

図2 2024年度薬価制度改革の影響：有用性系加算の該当数と割合の推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した

出所：2018～2025年度に記載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

の該当品目があった2018、2024、2025年度はそれぞれ、18.3%、20.0%、31.4%とその他の年度に比べてやや高めの数値であり、さらに2025年度は8月時点ではあるが調査期間中で最も高い数値を示した(図3上)。ただし、加算率についても2025年度

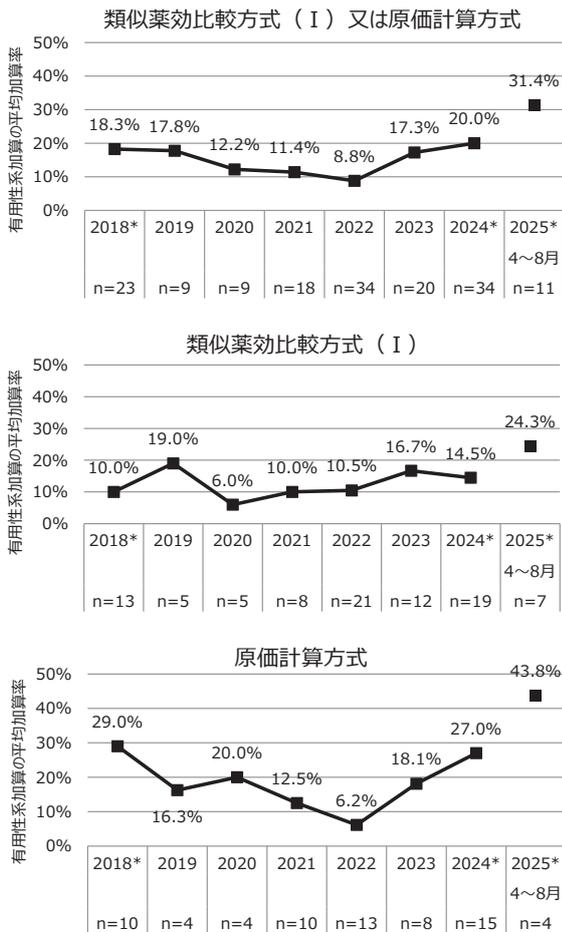
の年間を通した傾向については今後の動向次第と考えられる。

② 市場性加算、小児加算の現状

次に、市場性加算、小児加算を検討した。各加算への該当状況については、2018年度以降に記載された新有効成分含有医薬品を対象に、市場性加算((I)又は(II))もしくは小児加算のいずれかに該当した医薬品の割合を調査した。その結果、類似薬効比較方式(I)では2018~2023年度に16%(24/153)だったところ、2024年度以降(2025年は8月収載まで)は28%(13/47)であり、原価計算方式では2018~2023年度は59%(41/70)のところ、2024年度以降(2025年は8月収載まで)は75%(15/20)であった(図4円グラフ)。2024年度薬価制度改革前後で全体的に増加傾向が見られた点はNo.73と同様ではあったが、No.73で解析した2024年4~8月の状況(類似薬効比較方式(I):45%(9/20)、原価計算方式:70%(7/10))と比べると、今回解析した2024年4月~2025年8月は類似薬効比較方式(I)で該当割合が低くなっていた⁴⁾。市場性加算、小児加算は制約となり得る要件が算定方式によって一部異なることや、市場性加算と小児加算は併算定不可であることから、個々の加算の分析を算定方式ごとに行う際には注意が必要ではある^{1、11)}が、各加算を見ると、類似薬効比較方式(I)における市場性加算(I)は2024年4~8月では10%(2/20)に対し2024年4月~2025年8月では11%(5/47)(図4)と同程度の割合であった一方、小児加算は2024年4~8月では35%(7/20)に対し、2024年4月~2025年8月では17%(8/47)(図4)と差が認められた。

さらに、市場性加算、小児加算の加算率を検討

図3 2024年度薬価制度改革の影響：有用性系加算の加算率の推移

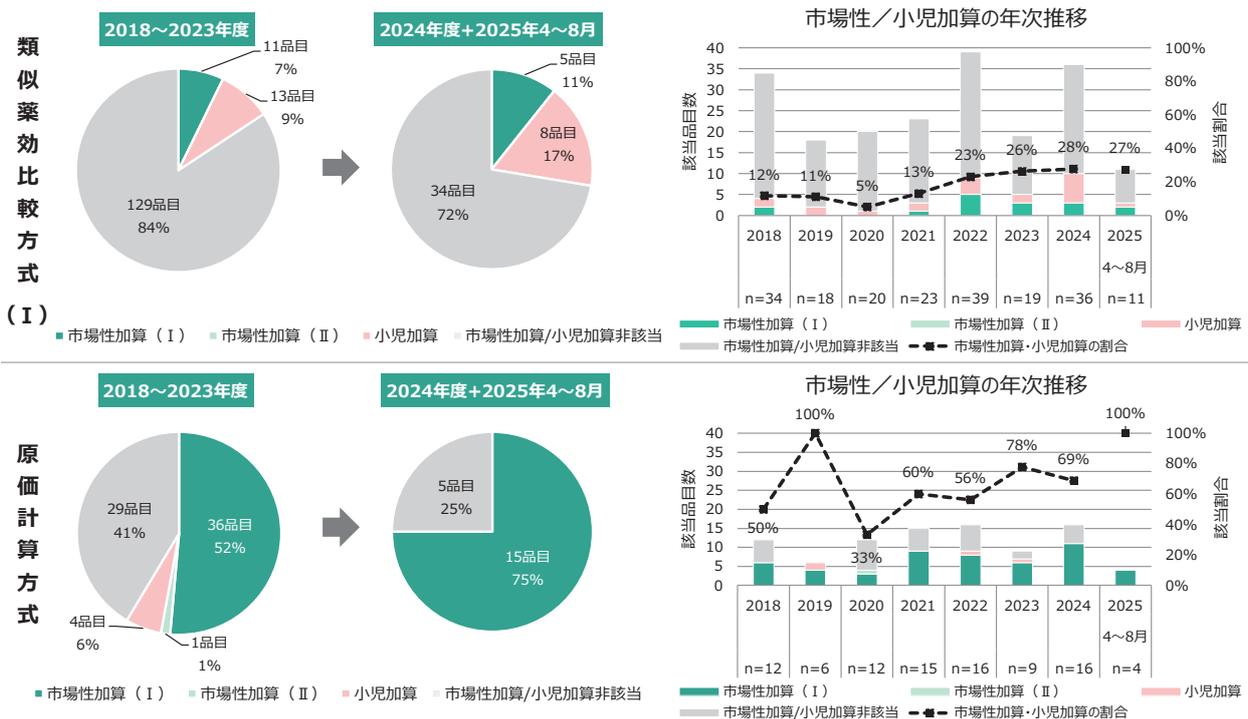


注1：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した
 注2：*は画期性加算の該当品目がある年度
 出所：2018~2025年度に記載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

11) 市場性加算と小児加算は、市場性や小児に関する要件に加え、「比較薬が当該加算又は類似する加算の適用を受けていない」という要件がある。そのため、類似薬効比較方式(I)においては市場性や小児に関する要件を満たした医薬品であっても、加算に該当しない場合がある。さらに、小児加算と市場性加算は併算定不可であることから、市場性加算(I)と小児加算の個別の割合は算定方式間で一概に比較できるものではなく、考察には注意を要する。なお、比較薬に関する具体的な要件は以下である。

- 市場性加算 (I)：比較薬が市場性加算 (I) の適用を受けていない
- 市場性加算 (II)：比較薬が市場性加算 (I) 又は市場性加算 (II) の適用を受けていない
- 特定用途加算： 比較薬が特定用途加算の適用を受けていない
- 小児加算： 比較薬が特定用途加算(小児の疾病の治療等に係る指定を受けて加算対象となった場合に限り) 又は小児加算の適用を受けていない(例外規定あり)

図4 2024年度薬価制度改革の影響：市場性加算／小児加算の該当数と割合の推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した

出所：2018~2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

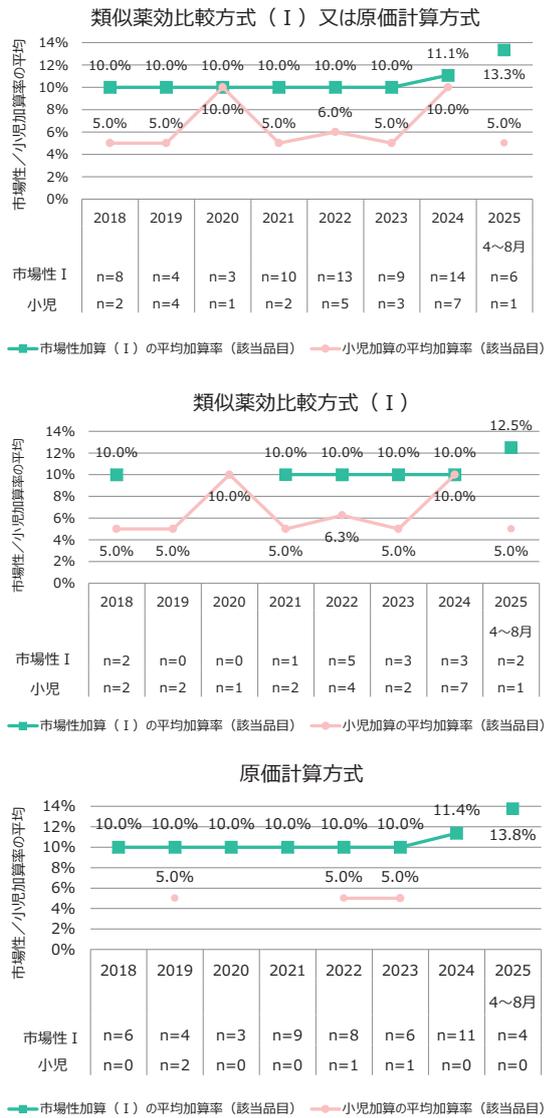
した。2018年度以降に類似薬効比較方式 (I) 又は原価計算方式で算定された新有効成分含有医薬品について、市場性加算 (I) と小児加算の加算率の平均値を調査した結果、市場性加算 (I) は2024年度制度改革前まで一貫して10.0%だったところ、2024、2025年度はそれぞれ11.1%、13.3%と、初めて10%超の値を示した (図5上)。また、小児加算については、該当品目が1品目のみだった2020年度を除くと概ね5~6%だった平均値が2024年度では10%であった (図5上)。2025年度は5%であったが、まだ加算への該当が1品目のみであることから、傾向についての言及は控えたい。なお、小児加算に関しては新有効成分含有医薬品以外や改定時の加算も含めて調査したものを、承認状況とともに政策研ニュース No.75で報告しているため、そちらも併せてご参照いただきたい¹²⁾。

③ 新薬創出等加算の現状

2018年度以降に類似薬効比較方式 (I) 又は原価計算方式で算定された新有効成分含有医薬品について、新薬創出等加算に該当した医薬品の割合を調査した。新薬創出等加算は制度改革のたびに対象品目の要件が追加となっていることから、No.73と同様、制度改革ごと (2年ごと) の比較を行った。その結果、類似薬効比較方式 (I) では62% (32/52)、56% (24/43)、64% (37/58)、79% (37/47)、原価計算方式では89% (16/18)、59% (16/27)、76% (19/25)、95% (19/20) と、いずれの算定方式でも2024年度薬価制度改革後が最も高い割合を示した (図6円グラフ)。一方、年次推移でみると、例数の少ない原価計算方式で年度ごとのばらつきが大きいものの、いずれの算定方式でも2023年度以降は一貫して70%超となっていた (図6棒グラフ)。

12) 医薬産業政策研究所、「小児用医薬品の国内承認及び収載に関する最新動向」、政策研ニュース No.75 (2025年7月)

図5 2024年度薬価制度改革の影響：市場性加算／小児加算の加算率の推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した
 出所：2018～2025年度に収載された新有効成分含有医薬品
 について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに
 医薬産業政策研究所にて作成

3-3. 補正加算等への制度変更の影響分析

制度改革前後で比較した前項、3-2. 補正加算等の現状における調査結果は、対象となる医薬品自体が異なることから、一概に制度の影響のみを分析できていない。そこで、より制度の影響に着目して分析する目的で、2024年度薬価制度改革で新

設／拡充された項目に該当した品目に限定して調査した。

① 新設／拡充された項目への該当状況

まず、新設／拡充された要件への該当状況について、有用性系加算、市場性加算／小児加算、迅速導入加算、新薬創出等加算別に調査した(表1)。

有用性系加算で新設／拡充された要件については、No.73では①-d (異なる創薬及び製造プロセス)、①-e (対象疾患領域で長期間の新規作用機序の新薬収載がない)、③-f (重要な副次評価項目での改善)の該当事例があることを報告していた⁴⁾が、2025年度に③-e (作用機序に基づく特定集団での効果)の該当事例もあった。これにより2品目が該当した可能性のある②-2-bの要件¹³⁾も含まれば、拡充された要件すべてに該当事例がでそろうと考えられる。

市場性／小児加算で導入された「加算率の柔軟な運用」に該当した事例は、市場性加算 (I) は20品目中7品目 (35.0%)と2024年度後半以降も順調に増加していた。

また、2024年度薬価制度改革で新設された迅速導入加算に該当した品目は2024年度後半に2品目増え、計4品目となっていたが、2025年度は8月時点での該当事例はなかった。

新薬創出等加算については、現時点で56品目中5品目 (8.9%)が導入された要件に該当していた (小児要件：4品目、組成効能製販同一：1品目)。

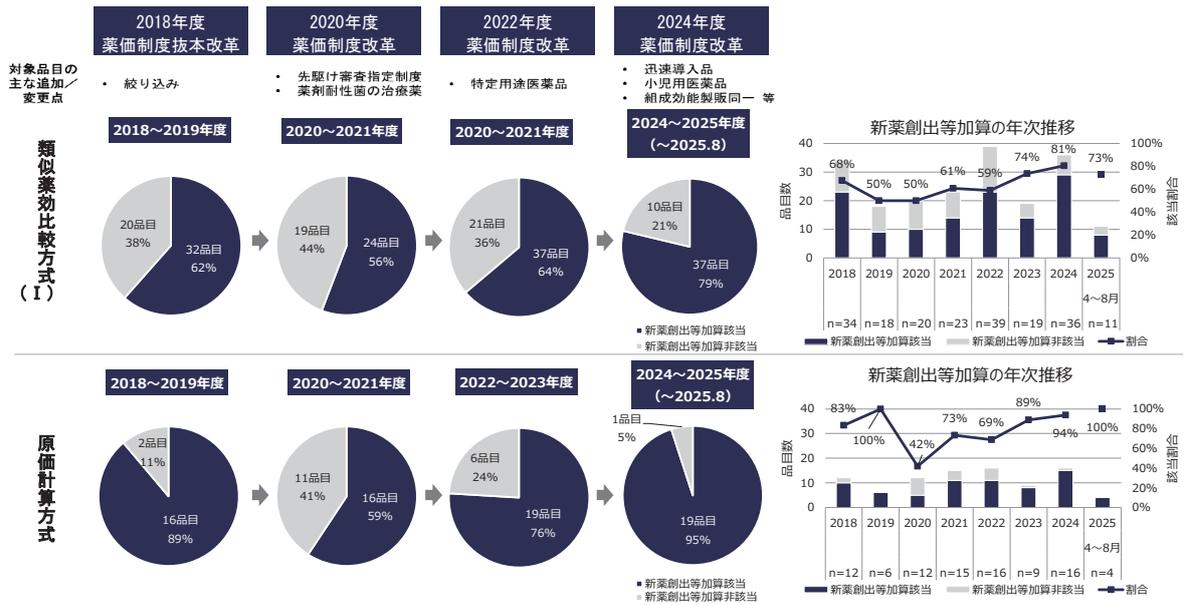
② 新設／拡充された項目に該当した品目への制度変更の影響

続いて、表1にまとめたこれらの品目 (括弧書きの2品目を含む) に関して、「加算の該当性」と「加算率」それぞれへの制度変更の影響を検討した。

まず、「加算の該当性」への影響として、従来の制度では加算に該当しなかったが、制度改革の結果、新たに加算の対象となった品目があったかど

13) 薬価算定組織や中医協 総会の議事録で明確な言及がない等により確定的な判断はできないが、拡充された②-2-b (算定組織の判断により、比較試験の実施が困難な難病・希少疾病への考慮が可能となった)も2品目が該当した可能性がある (表1)。

図6 2024年度薬価制度改革の影響：新薬創出等加算の該当数と割合（薬価制度改革ごと又は年次推移）



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した
 出所：2018~2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表1 2024年度薬価制度改革で導入された主な制度に該当した事例

2024年度に追加/変更された制度	有用性系加算					市場性加算	小児加算	迅速導入加算	新薬創出等加算	
	要件の拡充					加算率の柔軟な運用	加算率の柔軟な運用	加算の新設	要件の拡充	
	①-d	①-e	②-2-b	③-e	③-f				小児	組成効能製販同一
該当品目	アミヴィッド	レプロゾル	(サルグマリリン) ^注	ティブソポ	ボイデヤ	ゾキンヴィ	エヴキーザ	ボイデヤ	イブグリース	ヒフデユラ
	—	カムザイオス (ウェリレグ) ^注	—	—	シスタドロップス	サルグマリリン	アジンマ	アジンマ	ジンタス	—
	—	エアウィン	—	—	—	クアルソディ	セプーロチン	アセノベル	ブイタマー	—
	—	—	—	—	—	イムデトラ	—	タスフィゴ	ヒムペブジ	—
	—	—	—	—	—	リブマーリ	—	—	—	—
	—	—	—	—	—	ウェリレグ	—	—	—	—
—	—	—	—	—	エアウィン	—	—	—	—	
該当品目数	1	3	(2) ^注	1	2	7	3	4	4	1
当該加算への全該当品目数に対する割合	15.6~20.0% 7又は9品目/45品目					35.0% 7品目/20品目	37.5% 3品目/8品目	—	8.9% 5品目/56品目	

黒字：2024年度前半（4、5、8月） 緑字：2024年度後半（11月、3月） 青字：2025年度（4、5、7、8月）

注：②-2-bについては2品目が該当した可能性があるが、中央社会保険医療協議会 総会や、薬価算定組織の議事録等で言及がなく、確定的な判断ができなかったため括弧書きとした。

出所：2024~2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

うかを調査した。有用性系加算に関しては、制度変更により有用性加算 (II) から有用性加算 (I) になったと想定されるものは1品目、有用性加算 (I) から画期性加算になったと想定されるものは2品目あったが、従来の制度でいずれの有用性系

加算にも非該当だったと想定される品目はなかった¹⁴⁾。したがって、有用性加算 (I)、画期性加算に関しては各加算への該当率を拡大する方向で制度改革が寄与していたと言えるが、有用性系加算全体への該当率を拡大する効果は、本稿での調査

14) 制度改革前の加算の該当性は、新設又は拡充された要件以外の既存要件への該当性は変動しないと仮定して判断した。

期間中においてはなかったと考えられる。つまり、制度変更前後（2023年度以前と2024年度以降）、もしくは年次推移（2023年度から2024、2025年度にかけて）において見られた有用性系加算全体への該当率の変化（図2）の主な要因は制度変更ではないことが示唆される。なお、市場性加算（I）、小児加算については制度変更の内容自体が「加算率の柔軟な運用」であったことから、該当性への影響については検討しなかった。また、迅速導入加算については加算自体が新設されたものであることから、該当した4品目すべてが加算率だけでなく該当率にも寄与したと言える。一方、新薬創出等加算の要件の拡充に関しては、従来の制度でも新薬創出等加算に該当したかどうか（拡充されたもの以外の要件で該当し得なかったかどうか）の個別判断が困難であったことから、該当性への影響は検討しなかった。

次に、「加算率」への制度変更の影響を考察する目的で、表1にまとめた品目（括弧書きの2品目を含む）について「仮に制度変更が行われていなかった場合」の加算率を試算し、実際の加算率と比較した。有用性系加算、市場性加算（I）、迅速導入加算について加算率への影響を評価したところ、制度改革によって加算率の平均値が5～10ポイント以上高くなっていた（表2）。加算別にみると、有用性系加算の9品目については、制度改革前は平均28.3%の加算率だったところ制度改革により平均42.8%まで増加しており、平均値として14.5ポイント増加した^{15,16,17)}。2024年度以降に有用性系加算に該当した45品目の平均加算率への影響を試算したところ、2.9ポイント増（14.5%×9品目÷45品目=2.9%）であった。図3によると、有用性系加算の平均加算率は2023年度の17.3%に対

表2 仮に制度変更がなかった場合の加算状況との比較

	平均（最小－最大）	
	制度改革前〔想定〕	制度改革後
有用性系加算 n = 9	28.3% (5 - 40%)	42.8% (10 - 75%)
市場性加算 (I) n = 7	10.0% (10 - 10%)	15.0% (15 - 15%)
迅速導入加算 n = 4	0.0% (0 - 0%)	7.5% (5 - 10%)

注1：有用性系加算の制度改革前の加算率は、新設又は拡充された要件によるポイントが加算されず、その他の既存要件の該当性は変動しないと仮定して、医薬産業政策研究所にて試算した

注2：市場性加算（I）の制度改革前の加算率は、10%と仮定した

出所：2024～2025年度に取載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

し、2024年度は20.0%、2025年度前半は31.4%（2023年度と比べてそれぞれ2.7、14.1ポイント増）であり、2024年度以降の45品目の平均として計算すると平均加算率22.8%（2023年度と比べて5.5ポイント増）であった。つまり、本稿で試算した制度変更による平均加算率への影響（平均値において2.9ポイント増）に比べ、実際の平均加算率の変化はやや大きい可能性が示唆された。一方、市場性加算（I）に関しては、制度改革前は平均10%の加算率だったところ制度改革により平均15%となり、該当した7品目の平均値として5ポイント増であった。制度変更後に市場性加算（I）に該当した20品目の平均加算率への影響として計算すると、1.8ポイント増（5.0%×7品目÷20品目=1.8%）であった。図5によると、市場性加算（I）の平均加算率は2023年度の10%に対し、2024年度は11.1%、2025年度前半は13.3%（2023年度と比べてそれぞれ1.1、3.3ポイント増）であり、2024年度以降の20品目の平均として計算すると平均加算率

15) 制度改革前の加算率の試算は、新設又は拡充された要件によるポイントが加算されず、その他の既存要件の該当性は変動しないと仮定して行った。なお、有用性系加算の加算率の算出方法は、引用16、17に記載の方法に従った。具体的には、該当する各要件のポイントを合計したものに基準ポイント（画期性加算は11p、有用性加算（I）は5p）を加算し、そのポイント合計数に1ポイントあたり5%を乗じて計算した。

16) 中央社会保険医療協議会、中医協 総-2 参考1 (6.1.17)「令和6年度薬価制度改革の骨子」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001191738.pdf> (参照：2025/10/01)

17) 中央社会保険医療協議会、中医協 総-1-1 参考2 (30.5.16)「薬価算定基準における画期性及び有用性加算の加算率の定量的算出法に係る研究（抜粋）」、厚生労働省、<https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-Hokenkyoku-Iryouka/0000206266.pdf> (参照：2025/10/01)

11.8%（2023年度と比べて1.8ポイント増）であった。つまり、本稿で試算した制度変更による平均加算率への影響（平均値において1.8ポイント増）と同程度であることがわかった。

なお、小児加算に関しては「仮に要件が拡充されていなかった場合の加算率」の想定が特に困難であったことから、今回の検討には含めなかった。

4. まとめ・考察

本稿では2018年4月から2025年8月までに収載された新有効成分含有医薬品について、補正加算を中心とした算定状況を調査した。算定方式については、年度によって多少の変動はあるものの一貫して類似薬効比較方式（Ⅰ）が多く、近年は類似薬効比較方式（Ⅰ）が6～7割、原価計算方式が2～3割程度となっていた（図1）。類似薬効比較方式（Ⅱ）については近年減少傾向にあり、2023年度以降は0～1品目となっていた（2025年度は8月時点、表3）ことから、薬理作用類似薬が少ない医薬品、もしくは補正加算に該当する医薬品の開発が増加していると考えられ、革新的な新薬の開発が増加している可能性が考えられる。

投与形態別に見ると、これまでは内用薬に比べて注射薬で原価計算方式の割合が高い傾向があったが、2025年度（8月収載まで）では注射薬より内用薬で原価計算方式の割合が高かった。まだ年度途中であり品目数も少ないため、年間を通した傾向については今後の動向次第と考えられるが、2025年度に内用薬で原価計算方式の算定となった3品目はすべて希少疾病用医薬品であった。希少疾病用医薬品はその指定要件¹⁸⁾からも類似薬が少ないと考えられ、原価計算方式での算定になりやすい可能性がある。実際に、2018年度以降に収載された希少疾病用医薬品は、それ以外と比べて原価計算方式で算定される割合が高かった（図7）。これまで注射薬の方で原価計算方式の割合が高めだった理由としては新規モダリティの多さ等が考えられたが、内用薬で既存モダリティであっても

難治・希少疾患等を対象とした医薬品開発が増加すれば、現行の薬価制度においては原価計算方式の割合が減少しづら可能性も考えられる。

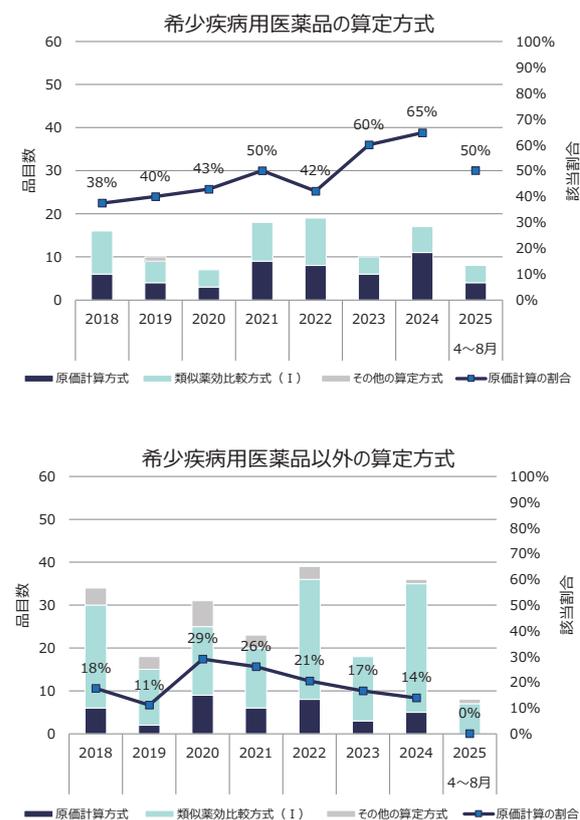
各種補正加算については、No.73での調査結果と同様、2023年度以前に比べ、2024年度以降で該当

表3 類似薬効比較方式（Ⅱ）で算定された品目

年度	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025 ～8月
類似薬効比較方式（Ⅱ）	4	3	6	3	2	0	1	1
合計	50	28	38	41	58	28	53	16

出所：2018～2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図7 希少疾病用医薬品の算定方式の年次推移



注：同一成分かつ同一投与形態は1品目として分析した。その他の算定方式は類似薬効比較方式（Ⅱ）や特例等。

出所：2018～2025年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

18) 厚生労働省、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要 <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>（参照：2025/10/01）

割合が増加している傾向は見られた（図2、4、6）ものの、2024年度については、前回報告に比べて数値が下がっていた項目が多かった。特に、類似薬効比較方式（I）における有用性系加算や小児加算への該当割合が、年度途中で調査した前回に比べ、年間を通した調査である今回では数値が減少していた。これは、類似薬効比較方式（I）における有用性系加算や小児加算では2024年度前半と後半で加算への該当割合に差が見られたことが影響したと考えられる（表4）。2025年度については8月現在、各種加算は高い該当割合となっている（図2、4、6）が、上述した2024年度の傾向を踏まえると1年を通した傾向については現時点での考察は難しく、2024年度薬価制度改革以降の傾向についても、今後の動向を継続的に注視する必要がある。

制度変更前後の時系列での比較は対象となる医薬品自体が異なるため制度のみの影響を考察することが困難な側面があるが、新設された有用性系加算や新薬創出等加算の要件、そして「加算率の柔軟な運用」等の2024年度薬価制度改革の変更点への該当品目は順調に増えており、前回調査では

該当事例がなかった③-eについても1品目該当し、すべての事例が出そろったと考えられた（表1）。以上より、改革された制度が継続的に適用されている様子が伺えた。有用性系加算については、新設／拡充された要件に該当した品目において制度改革による加算率への影響が確認され、医薬品のイノベーションへの価値が制度改革によってより多面的に評価されるようになった可能性が伺えた。一方、有用性系加算で新設／拡充された要件による加算への該当割合の拡大は、本稿調査時には生じていなかった。にもかかわらず、有用性系加算への該当割合は2023年度以前に比べて2024年度以降で増加していること等を踏まえると、制度改革による医薬品の価値評価の充実に加えて、評価されるべき医薬品も増加してきていることが伺われた。

5. おわりに

本稿では、新有効成分含有医薬品の薬価算定状況について、補正加算を中心に、2024年度後半以降の状況を更新した。その結果、前回の報告同様、2024年度薬価制度改革においてイノベーションを評価する方向で変更された制度が継続的に適用されている様子が伺われた。一方で、2024年度については年度の前半と後半で一部の加算について該当割合のトレンドに差があったことから、2025年度についても年間の傾向は今後の推移も踏まえて判断する必要がある。補正加算は、革新的な医薬品の創出と医薬品の適切な評価の両面が影響するものであることから、一時点での該当割合の増減に関して一概には考察しづらい部分もある。しかし、本稿で試みたような、制度適用要件と加算との関係のマイクロなデータによる分析を含めて、イノベーションの適切な評価と革新的新薬の持続的創出の好循環の実現に向けた制度のあり方に重要な情報を提供できる可能性も考えられ、今後も透明な情報開示がなされていくことを期待したい。

表4 2024年度の各加算への該当割合の推移

		2024年度			前半と年間の差
		前半 4、5、8月	後半 11、3月	年間 4～3月	
算定方式	類似薬効比較方式（I）	67% (20/30)	70% (16/23)	68% (36/53)	1%
	原価計算方式	33% (10/30)	26% (6/23)	30% (16/53)	-3%
有用性系加算への該当割合	類似薬効比較方式（I）	70% (14/20)	31% (5/16)	53% (19/36)	-17%
	原価計算方式	100% (10/10)	83% (5/6)	94% (15/16)	-6%
市場性加算・小児加算への該当割合	類似薬効比較方式（I）	45% (9/20)	6% (1/16)	28% (10/36)	-17%
	原価計算方式	70% (7/10)	67% (4/6)	69% (11/16)	-1%
新薬創出等加算への該当割合	類似薬効比較方式（I）	90% (18/20)	69% (11/16)	81% (29/36)	-9%
	原価計算方式	100% (10/10)	83% (5/6)	94% (15/16)	-6%

No.73 今回

出所：2024年度に収載された新有効成分含有医薬品について、中央社会保険医療協議会 資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

主な活動状況（2025年6月～2025年10月）

6月	受賞	第5回 日本統計学会中村隆英賞 一橋大学名誉教授 医薬産業政策研究所研究顧問 長岡 貞男
7月	1日	政策研ニュース No.75発行
	23日	ポジションペーパー・「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告 一政策研シリーズ No.7発行 研ニュース No.75より一」
	28日	ポジションペーパー・「米国 EBP 由来医薬品に関する調査 一バイオ品と低分子品の比較一」
10月	14日	講義 「医療分野におけるビッグデータの活用」 医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子 (北里大学『医薬開発学特論Ⅲ』)

レポート・論文紹介（2025年6月～）

医薬産業政策研究所前所長、現研究顧問の長岡貞男先生が、一般社団法人 日本統計学会「第5回 中村隆英賞」を下記の通り、受賞されました。

第5回 日本統計学会中村隆英賞 受賞

一橋大学名誉教授 医薬産業政策研究所研究顧問 長岡 貞男

【略歴】

1975年 東京大学工学部卒業、1975年 通商産業省入省、1980年 マサチューセッツ工科大学スローン経営大学院卒業（経営学修士）、1990年 Ph.D in Economics（マサチューセッツ工科大学）、1992年 成蹊大学経済学部教授、1996年 一橋大学商学部教授、1997年同イノベーション研究センター教授、2015年 一橋大学名誉教授・東京経済大学経済学部教授、2023年 同大学退職。現在、経済産業研究所のプログラム・ディレクター（イノベーション分野）。

【授賞理由】

長岡貞男氏は、統計分析を活用したイノベーション研究において顕著な貢献を果たし、国際的にも高い評価を受けている。著書『発明の経済学』は日経・経済図書文化賞を受賞するなど、多くの研究成果を挙げている。特に、特許制度改革の統計分析による研究は、エビデンス・ベースの政策形成に先駆的な役割を果たした。加えて、発明者レベルのデータを集約した新たな統計データの開発と分析においても国際的に重要な役割を果たし、発明の創造過程や商業化過程の理解を深めることに貢献した。さらに、知的財産分野の統計を政府や企業の意思決定に活用するための整備や事例創出にも尽力し、特許庁の知的財産活動調査への助言やOECD主催の国際会合での知的貢献など多岐にわたる活動を展開した。これらの実績は2021年4月の経済産業大臣表彰受賞によっても裏付けられている。長岡氏の研究と普及活動は、経済統計の発展に大きく寄与するものであり、中村隆英賞に相応しい。

引用：一般社団法人 日本統計学会 HP https://www.jss.gr.jp/society/prize/prize_biog2025/

ポジションペーパー・シリーズ No.7 発行

「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告 一政策研ニュース No.75より」

【要旨】

現在、厚生労働大臣等が保有する医療・介護に関する公的データベースの仮名化情報の利用・提供や、他の仮名化情報、次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析が制度的に検討されている。

こうした背景を踏まえ、製薬企業における公的データベース等の利活用の実態、将来的な期待や課題、ならびに想定されるユースケースを明らかにすることを目的として、日本製薬工業協会医薬品評価委員会に所属する加盟74社を対象にウェブアンケート調査を実施した。

その結果、利活用経験については全回答の約4割が「活用または検討経験あり」と回答し、一定の取組みが確認され、今後の活用意向については約7割が前向きであった。

拡充が期待される情報としては、患者背景やカルテ由来情報、検査関連データが挙げられ、特に臨床検査値、画像データ、医師所見、任意接種記録に対する要望が多かった。

また、想定されるユースケースの疾患領域では「抗悪性腫瘍剤」が最多であったが、特定疾患に限らない横断的研究の重視も示された。

さらに、活用を希望するデータベースについては74.5%が「複数のデータベースの連結」を望み、とりわけNDBとの連結に強い期待が寄せられた。

こうした連結解析により、新たな治療法の効果や患者プロファイルの把握を通じた治療戦略の最適化や個別化医療の推進が可能となるとともに、市販後の安全性監視の強化や効率的なエビデンス構築など、多方面での進展が期待される。

今後の推進にあたっては、法的整備に加えて製薬企業の積極的な取組みと成功事例の共有を通じた意義の発信が不可欠であり、さらに、制度・運用面の課題のみならず企業内の理解不足や体制整備の遅れといった内部要因も克服する必要がある。したがって、実務に即した制度設計と企業内体制の強化を両輪として進めることが求められる。

ポジションペーパー・シリーズ No.8 発行

「米国 EBP 由来医薬品に関する調査 — バイオ品と低分子品の比較 —」

【要旨】

〈背景〉

新薬創出の世界的潮流において、バイオ医薬品数とその市場規模は年々拡大しており、その中でも新興企業（Emerging Biopharma, EBP）の存在力が増していると言われている。

現在米国は創薬の場において世界の中心であり、前回のポジションペーパーにて、米国が創出する医薬品のモダリティのうち全体の約半数を占める低分子品における米国EBPの活動について調査報告し、低分子品における EBP の存在感が非常に高いことが分かった。

〈目的〉

そこで本論では、バイオ品創出に米国のEBPが実際にどの程度貢献しているか、低分子品と比較してどのような特徴をもつかを可視化することで、日本の創薬研究活性化を考えるうえでの一助となるのではないかと考え、以下の研究を行った。

2013-2023年に2極以上で承認を受けた米国EBP由来のバイオ医薬品に関して品目を調査し、低分子品と比較することでその特徴を抽出した。

バイオ品ではアカデミア由来を含む基本特許の数およびその割合が低分子品より高かったことから、EBP由来品に加えて、米国アカデミア由来品の特徴を抽出した。

米国 EBP 由来品について、低分子品とバイオ品の比較をした。

〈米国 EBP 由来品・アカデミア由来品の動向と特徴まとめ〉

[EBP 由来品]

EBP 品が米国由来グローバル承認品全体に占める割合は直近5年で増加した。

特許公開時期別にみた場合、EBP 由来品は2011年以降も増加していた。

特許公開時期別に見たモダリティ別特徴は、

- ・バイオ品：2010年以前はリコンビナント抗体と蛋白質製剤が隆盛で、モノクローナル抗体は2011年以降の特許が多かった。New modalityの特許は多くは2011年以降に出されており、モダリティによる研究トレンドの経年変化が見られた。
- ・低分子品：大多数を占めるL分類においては、蛋白構造解析などの breakthrough や母核構造の進展により、キナーゼ阻害剤の特許公開時期を時系列に明確な研究開発のトレンドが読み取れた。

EBP由来のバイオ品は低分子品と比べて薬効分類の偏りが少なく（非EBPとの比較）、領域によって最適なモダリティを選択していた。

バイオ品は非臨床段階で提携しており、その提携先はメガファーマが多かった。一方低分子品は提携時期に偏りはなかった。

特許出願機関の観点では、バイオ品も低分子も同様にアカデミアとの共願は少なく、EBP単独出願が大多数であった。

[アカデミア由来品]

米国由来グローバル承認品全体に占めるアカデミア由来品の占める割合は、12%（29/236）であった。

アカデミア由来が占める割合、数ともに、バイオ品のほうが高かった。

アカデミア由来のバイオ品目は、EBPに最も多くライセンス、次にメガファーマに導出していた。

基本特許を公開したアカデミアと関与が深いEBPへライセンスアウトした品目は計3品目であり、アカデミアで獲得した特許が関連EBPを経てグローバル承認品目になったものは多くなかった。

米国由来品全体に占めるFICの割合はアカデミア由来品では74%で、バイオ品に限ると84%がFICであった。

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所
OPIR

Office of Pharmaceutical Industry Research

政策研ニュース
2025年11月発行

〒103-0023
東京都中央区日本橋本町2-3-11
日本橋ライフサイエンスビル7階

TEL 03-5200-2681

FAX 03-5200-2684

MAIL opir-sp@jpma.or.jp

<https://www.jpma.or.jp/opir/>

無断転載を禁ずる