

医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方についての 検討結果及びこれを受けた対応等について

平成 28 年 12 月 21 日

日本医療研究開発機構

日本医療研究開発機構（AMED）は、昨今の画期的な新薬の保険収載を巡って、イノベーションの評価と国民皆保険の維持を両立する観点からの様々な取組や議論がなされている状況に鑑み、平成 28 年 5 月に、「医療研究開発推進に関する医療経済的な視点も踏まえた今後の在り方検討委員会」を設置して、医療保険を巡る昨今の状況を踏まえた、AMED が支援する医療研究開発とその普及の在り方や研究開発費の確保等について検討を行ってきました。

同委員会において、これまで検討を重ねてきた結果、今般、別紙のとおり、「医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方について」が取りまとめられました。本報告書は、AMED が今後我が国の医療イノベーションの推進を担っていくために考慮すべき点や必要な考え方を整理したものであり、これを今後の業務の推進に活かしていきます。AMED としては、本報告書を受けて、当面、主として次の事項についての対応及び検討を図ることとします。

1 医療保険を巡る状況等を踏まえた医療イノベーションの更なる推進

(1) AMED として、研究開発支援に関し、予算措置を受けて、開発コストの削減や医療の効率化に直接的に資する次の事項等に取り組みます。

- ① 臨床ゲノム情報統合データベースや創薬支援ネットワーク、クリニカル・イノベーション・ネットワークのような基盤整備事業の推進
- ② 治療用医療機器の有効性を短期間で判断する評価法や市販後調査等を活用した評価法の研究
- ③ 医薬品等の研究開発における ICT の活用や AI 技術の利用の推進
- ④ 生活習慣病やがん、感染症等の予防のための効果的な診断・検査法、ワクチン等の研究開発
- ⑤ 保険収載された高額薬剤についての適正使用の研究や、市販後におけるレギュラトリーサイエンス研究

(2) 研究開発費の予算上の制約が厳しい中で、医療イノベーションの更なる推進に必要な財源の確保や施策の充実を要請していきます。

2 研究開発支援における医療経済的視点の積極的導入の検討

政府で検討されている費用対効果評価の議論の推移にも留意しながら、研究開発費を効果的に使用する方策として本報告書において提言された取組（※）の具体化を検討し、研究開発支援における医療経済的視点を取り入れた業務の推進を図ります。

※ 本報告書 p5、6 において次のように述べられている。

- この点も含めた、AMED が実用化という目的達成のために研究費を効果的に使用する方策としては、
 - ①ファンディングや論文等の現状分析により、支援が十分ではない研究領域を抽出し、効果的な資金配分につなげる、②開発段階における共通基盤の利用を進める、③開発段階においてステージゲートを設けて、医療経済的観点も含めて実用化の可能性を評価する、④研究開発計画の中止・見直しも含め、研究課題を評価する際の評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図る、⑤成功しなかった研究開発の情報もインフラとして共有し、他の研究開発において、同様な不成功を招かないようにしたり、別の方法で活用したりする、といった取組が考えられ、その具体化の検討が求められる。

3 医療保険を巡る動向等を踏まえた、財政的対応に係る官民連携の推進

非常に高額な医薬品、医療機器による医療サービスを公的医療保険の給付対象外とするかどうかも含め様々な議論があり、公的保険を巡る今後の動向等を踏まえ、次の事項に取り組みます。

- ① 民間保険による新たな経済的支援を行う際の収支設計に必要な、高額薬剤等の開発の将来の見込みや患者数等の給付対象者の基礎的統計データに係る、保険会社との対話や、情報共有の検討
- ② 今後の医療の研究開発の進展等も踏まえ、民間保険の活用の可能性を含めた官民連携の在り方についての検討の喚起

医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方について

平成 28 年 12 月

医療研究開発推進に関する医療経済的な視点も踏まえた今後の在り方検討委員会

<はじめに>

日本医療研究開発機構（AMED）は、健康・医療戦略推進法に基づき、国が定める医療分野研究開発推進計画において医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられており、国立研究開発法人日本医療研究開発機構法を始めとする関係法令等に基づき、基礎から臨床までの研究開発を一貫して推進し、その成果を円滑に実用化につなげていくことを目指して業務を遂行している。

他方、昨今の画期的な新薬の保険収載を巡っては、イノベーションの評価と国民皆保険の維持を両立する観点からの様々な取組や議論がなされている。

このような状況に鑑み、AMED として、我が国の医療イノベーションの推進を担っていく立場から、医療保険を巡る昨今の状況を踏まえ、AMED が支援する医療研究開発とその普及の在り方や研究開発費の確保等について検討を行うため、平成 28 年 5 月に、AMED 経営執行会議の付託に基づく内部委員会として当委員会が設置された。

当委員会は、これまで、イノベーションを推進する AMED が支援する研究課題の現況と、最近の医療保険の動きなど、取り巻く状況認識を十分に共有した上で、検討を重ね、医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方について、様々な意見を以下のとおり取りまとめた。本報告書は、AMED が今後我が国の医療イノベーションの推進を担っていくために考慮すべき点や必要な考え方を整理したものである。

1 医薬品、医療機器、再生医療における研究開発の現状と課題について

- 企業における医薬品開発は、低・中分子医薬品からバイオ医薬品まで幅広く考えるように変化してきた。新薬の開発コストは、グローバル開発で 2 千億円以上かかる時代になっている。代表的な世界の製薬企業 6 社でも、売上上位 10 品目は 5～7 割の売上率を占め、また、一般的に医薬品は上市后 10 年ほどで特許が切れるため、毎年画期的な新薬を世に出す等して毎年一定規模以上の売上げを追加していかなければ、企業として経営を維持していけない宿命を負っている。医薬品開発の費用は高騰する一方、日本企業の規模は小さく、グローバル企業との資本力の格差が指摘されている。このように、研究開発を巡る環境は厳しさを増している。

- ゲノムとリンクしたビッグデータ解析が創薬シーズ発見の新たな有力手法として国際的に

取り入れられ、データ解析の基盤整備の国家間競争も激しさを増している。

- 疾病の原因遺伝子の発見から新薬の創出までのスピードが加速する中で、臨床ゲノム情報統合データベースや創薬支援ネットワーク、クリニカル・イノベーション・ネットワークのような基盤事業は、成功確率の向上や開発コストの削減に非常に重要である。
- 医薬品、治療用医療機器等の研究開発において、臨床試験・治験に係る研究開発費の比重が最も大きく、このコストを削減するため、クリニカル・イノベーション・ネットワークに加え、グローバル開発における治験プロトコールの共通化等による効率化も重要である。
- 抗体医薬品の開発でも、抗体医薬の成功と市場拡大を受けて国際的競争が激しさを増している。抗体医薬品の研究開発では、フェーズ3前に商業生産設備の整備に多額の投資をする必要があり、製造工程が確立した後も建物設備に多額の投資が必要となる。また、バイオ医薬品等の高分子医薬品の製造には技術開発の余地の少ない部分があり、高コストの要因となっている。国からの支援として、製造技術研究の支援や共同製造設備の拡張・強化など規模の大きな事業が必要である。
- 医療機器については、国内市場は世界の10分の1の規模で、輸出額より輸入額が0.8兆円上回っており、中でも治療用又は手術用医療機器については900億円の大幅な輸入超過の状況にあり、国際競争力の高い新製品の創出に向けた更なる研究開発の推進が必要である。特に、企業ではなかなかできない病因・病態に関する基礎研究や治療法の研究については、公的な支援が期待される。医療機器の開発では、治療用医療機器の有効性を短期間で判断する評価法や市販後調査等を活用した評価法の研究に取り組み、開発コスト削減を進めることも求められる。
- 医療機器については、現場のニーズに基づき、医師と協働しながら研究開発を進めていくという特徴がある。そういう点から、新医療機器のみならず、現場のニーズに応じた改良医療機器の開発の進展が必要である。

- 再生医療については、黎明期であり製品の価格は高額で、市場規模が非常に小さく、経営環境は厳しい。再生医療に関するルールにより合理的な運用、産学連携による CPC（細胞加工施設）の共同利用や、安全性・有効性について患者の理解を得るため、患者とコミュニケーションを取りながら経験を重ねていく産学官患連携の取組等が、コスト削減に必要である。
- 医薬品等の研究開発における ICT の活用については、それによって開発の各フェーズやネットワークで得られた臨床データをビッグデータとして体系化し、データサイエンスを効果的に活用することで、開発の質とスピードを飛躍的に向上させることが可能であり、更なる取組が必要である。その際、複数の研究開発情報を収集し、AI 技術も利用して活用するためには、データの標準化・共有化も推進すべきである。
- 医薬品等の研究開発において、アカデミア研究のシーズ化の重要性が近年高まっている中、大学や研究開発法人の基盤的経費に対する予算は削減され続けており、研究機関を巡る環境も厳しさを増している。大学や研究開発法人の研究は、競争的資金の獲得に頼らざるを得なくなっている。アカデミアのシーズ研究を活性化し、育てる視点からも、更なる研究支援が必要である。
- AMED 研究費による支援テーマの中には、低・中分子化合物等の構造最適化、抗体医薬品、核酸医薬品、ゲノム医療、遺伝子治療、再生医療、次世代型医療機器等の領域で、非常に先進的・画期的ではあるものの多額の研究開発コストがかかるものも多く存在している。

2 医療保険を巡る状況等を踏まえた今後の医療の研究開発支援の在り方について

(1) 総論

- 医療イノベーションは、様々な疾病に苦しむ患者に大きな治療効果をもたらす等、国民の生命・健康に成果が還元されるものであるとともに、産業政策の面でも我が国経済の成長に寄与するものであり、更なる推進が必要である。財政制約がいかにか厳しくとも医療イノベーションは必要不可欠であり、AMED として、アンメットメディカルニーズを満たす医薬品、医療機器等を医療現場や患者に速やかに届けることを目指して、研究開発支援にはしっかりと取り組むべきである。

- 研究開発において企業やアカデミアが果たす役割を考え、それに対して AMED がどのような支援に取り組むべきかを考えていく必要がある。AMED として優先して取り組むべき課題としては、国の戦略上重要な基礎研究の推進、企業の研究開発に共通のインフラの整備、難病等の希少疾病用薬の研究開発等が挙げられる。
- 我が国における健康寿命の延伸のため、また、医療経済的な観点からも、生活習慣病やがん、感染症等の疾病にかからないよう予防することは重要であり、そのための効果的な診断・検査法、ワクチン等の研究開発に、AMED として取り組む必要がある。
- また、医療の有効性、安全性及び効率性の観点から、医療に変革をもたらすための技術やシステム（メディカルアーツ）の開発及び普及に関する研究の本格的な推進にも、AMED として取り組む必要がある。
- 研究開発費に関しては、欧米の一部のように、医療の評価等に関する研究に、相当額の国家予算を確保するという取組も考慮されるべきである。
- 概算要求・予算編成において、医療費国庫負担等の義務的経費と研究開発予算等の裁量的経費は別々に区分して取り扱われている。研究開発費の予算上の制約が厳しい中で、例えば、医療費の削減につながる新技術の開発や薬価の引下げ等による効率化分は研究開発予算に還元すべきという、予算編成上の視点がある。
- 開発企業に対しては、薬価だけではなく何らかのインセンティブ（例えば、研究開発支援、データ保護期間の延長、国等による備蓄等）を与えることも考慮されてよいのではないかとの意見もある。
- 基盤整備に関しては、AMED は、平成 28 年 10 月に成立した平成 28 年度補正予算により政府出資を受けて、産学等の連携による革新的新薬・医療機器の研究開発やそのための共同利用設備の整備等を積極的に進めることとしており、その取組は着実に進められるべきである。

- 現在の研究開発は製造販売企業一社で完結するものではなく、ベンチャーやアカデミアとの連携・協力、IT 企業や診断技術を有する企業、医薬品・医療機器の企業との間での異業種の連携・協力が進んでいる。ベンチャーの育成やオープンイノベーションの推進に AMED としても取り組んでいく必要がある。
- AMED と企業のコミュニケーションにより、企業がどのような開発に取り組んでいるかの方向性を共有し、その下で AMED がアカデミアに効率的に資金提供することが重要である。また、AMED のプログラムスーパーバイザーやプログラムオフィサーと企業のコミュニケーションが世代交代によって途切れてしまうことがないよう、AMED における人材の育成・確保が必要である。
- 日本企業とグローバル企業の資本力の格差が指摘されている中で、大手を含む日本企業が世界市場でどのように力を発揮していくか、研究開発成果の実用化だけでなくその先の世界戦略にも目が向けられるべきである。そういう点からも、コストが高騰化している国際共同臨床試験・治験について、国内外の関係機関が連携して効率的に実施できる体制を構築することや、国際競争力を高めるに当たって、知的財産に関する戦略的な取組を進めること等の基盤整備の取組も必要である。
- 国連の持続可能な開発のための 2030 アジェンダ及び持続可能な開発目標（SDGs）において、保健分野の目標も設定されており、研究支援において、その理念に沿って研究開発の持続可能性を高める視点も必要である。
- AMED の研究支援においては、開発段階のいずれかの時点で、医療経済的な観点からの見定めが研究費の有効活用のために必要である。
- この点も含めた、AMED が実用化という目的達成のために研究費を効果的に使用する方策としては、①ファンディングや論文等の現状分析により、支援が十分ではない研究領域を抽出し、効果的な資金配分につなげる、②開発段階における共通基盤の利用を進める、③開発段階

においてステージゲートを設けて、医療経済的観点も含めて実用化の可能性を評価する、④研究開発計画の中止・見直しも含め、研究課題を評価する際の評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図る、⑤成功しなかった研究開発の情報もインフラとして共有し、他の研究開発において、同様な不成功を招かないようにしたり、別の方法で活用したりする、といった取組が考えられ、その具体化の検討が求められる。

(2) 費用対効果評価との関連

- 公的医療保険において費用対効果評価の試行的導入が一定の品目を対象に行われており、平成 29 年度以降にアプライザル（総合的評価）を実施することとされている。費用対効果評価においては、治療効果を比較するために必要なデータを得るための方法論が重要である。
- 費用対効果評価の方法論としては、企業や国のデータ収集が重要であり、どのような費用や効果に関するデータが必要か、効果指標が QALY（質調整生存年）なら QOL についてのどのようなデータが必要か、どの程度の期間データをフォローするか等について政府レベルでの整理が必要である。
- 費用対効果評価の方法論について関係者間でコンセンサスを確立した上で、研究開発の段階から、価格や適応疾患を想定して、費用対効果も考慮に入れた開発戦略を考えていくことも重要である。
- 費用対効果評価におけるレギュラトリーサイエンスとの連携の確保、具体的には、コストベネフィットとリスクベネフィットの概念の明確化や両者の関係等の整理についても、研究が必要である。
- 費用対効果評価に関しては、AMED は疫学データの収集・評価法等の自然科学の見地からの範囲の研究を行うものと考えられる。

(3) 適正使用等との関連

- 保険収載された非常に高額な薬剤等で、一部の患者に対しては有効であるが、投与前には十

分に有効か無効かが予測しきれないものについては、例えばバイオマーカー研究等を通じて、投与後の有効例に対しては一定期間の効果が出ている時点で投与を中止することが可能か、投与後の無効例に対しては一定期間効果が出ていない時点で効果がないと見極めることが可能か、といった適正使用の研究をしなければならない。また、その際には、投与の実態把握と診療サポートを行うシステムの構築が必要である。

※ オブジーボ、レパーサ、その類薬を対象とする最適使用推進ガイドラインを関係学会及び医薬品医療機器総合機構（PMDA）が平成 28 年度に試行的に策定することが検討されている。

- さらに、これを機に、保険収載される前にどの程度、最適な使用方法に関するエビデンスを用意すべきかの検討も必要である。一方で、このエビデンスの収集に時間がかかり保険収載が遅くなると、それまで患者がアクセスできなくなる問題があり、そのような場合には、保険収載した上でその後も必要な研究をしていくことも考えられ、市販後におけるレギュラトリーサイエンス研究も重要である。

※ 最適使用推進ガイドラインは、当面、新規作用機序医薬品及びその類薬を対象として、個別医薬品ごとに承認に併せて策定していくこととされている。

- 外科領域等においては、ベストプラクティスに対して自らの治療成績の位置付けを把握するベンチマーキングの手法を用いた取組がなされている。これは、個別技術の質の評価に役立つのみならず、医療へのアクセスや人材配置・資源配分の効率化等、医療の質の向上と効率化に重要であり、その達成に向け ICT や AI 技術を活用する取組を更に進めるべきである。

3 医療イノベーションを支える今後の財政的バックグラウンドについて

(1) 公的保険の在り方

- 非常に高額な医薬品、医療機器による医療サービスを公的医療保険の給付対象外とするかどうかも含め様々な議論があるが、グローバル開発された高額製品への単純な抑制策では、企業のビジネスモデルが成り立たなくなるとの指摘がされている。研究開発と財政が両立できる仕組みが必要である。

- 公的保険に関する昨今の議論には、国民皆保険の維持のため、高度・高額で個人で対応できない医療については手厚く対応し、個人で対応できるものには自己負担を増やしたり給付外としたりして制限的に対応する等の議論もある一方、非常に高度・高額で先進的な医療あるいは著しく個人差が生じる医療の一定部分については、公的保険とは別の仕組みとするかどうかの議論もある。
- いずれにしても、公的保険の大きな枠組みは、今後も維持すべきである。一方で、非常に高度・高額で先進的な医療に対し、官民連携の下に財政的対応を行うことの可能性について検討する必要がある。

(2) 官民連携について

- 公的保険における高額薬剤等への今後の対応については、給付対象外とするかどうかも含め様々な議論があり、場合によっては、薬事承認はされたが費用対効果の観点から保険収載はされない高額薬剤等が将来的には出てくること等も想定される。
- 我が国の民間保険について見ると、国民皆保険の下、公的保険を補足して定額給付機能を中心に普及してきており、近年は、公的保険の先進医療を対象に補足機能を持つ特約も増加している。
- 民間保険において、安全性・有効性が一定程度認められている医療でなければ、給付対象にすることは難しい。
- 民間保険による新たな経済的支援を行う場合には、収支設計のために、高額薬剤等の開発の将来の見込みや、患者数等の給付対象者の基礎的統計データが必要であり、このようなデータについて、AMED も含めた官民での共有が必要である。
- 民間保険は、保険料の年齢・性別での設定やアンダーライティング（告知・医務査定）によるリスク選択といった特徴を有しており、低所得者や既往症等を有する者は加入しにくい。また、個人が任意に加入する。長期契約、短期契約の保険期間の概念もある。公的保険の加入の

枠組みとは異なることに留意が必要である。

- 現状では、安全性・有効性が一定程度認められるものの、公的保険の保障対象とされる前段階の医療に対して、補足機能を有する民間保険は、高額で選択制の高い医療サービスの経済的支援を担い、国民にとって普遍性のある医療サービスとなっていくことをサポートしている面もあり、将来に向けても、このような役割を担っていくことも期待される。
- 公的保険の保障対象にされない高額医療に民間保険で経済的支援を行うには、十分な加入者数の確保やそのための政策的支援、給付上限の設定や再保険の仕組みも含め、様々な検討課題があり、これらを適切に整理・解決できることが前提となる。今後、先進的・画期的な医療の研究開発を促進していく上で、民間保険による新たな経済的支援を行う可能性についても、公的保険を巡る今後の動向等も踏まえつつ、さらに検討が進められる必要があると考えられる。

<おわりに>

医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方について、更に議論を要する論点あるいは委員の中に異なる見解がある論点があることを踏まえて、当委員会としてこれまで行われた議論を整理した結果は、以上のとおりである。

当委員会としては、AMED に、本報告書を十分に活用して、今後の我が国における医療の研究開発の更なる推進に取り組むことを求めたい。

その際、これまでの研究開発支援の経験も踏まえ政府の政策につなげていくことが適切な事項については、AMED として政府の政策への反映に努力することを望みたい。

医療研究開発推進に関する医療経済的な視点も踏まえた今後の在り方検討委員会委員名簿

委員長 大谷 泰夫 AMED 理事

副委員長 島崎 謙治 政策研究大学院大学 教授

五十嵐 逸郎 東京海上日動火災保険株式会社 執行役員 兼 個人商品業務部長(※)

今村 聡 日本医師会 副会長

上田 哲也 日本生命保険相互会社 商品開発部 部長(※)

笠貫 宏 早稲田大学 特命教授

加茂谷 佳明 塩野義製薬株式会社 常務執行役員
(日本製薬工業協会 産業政策委員会幹事)

永井 良三 自治医科大学 学長

福井 次矢 聖路加国際病院 院長

福田 敬 国立保健医療科学院 医療・福祉サービス研究部 部長

村越 正英 テルモ株式会社 富士宮工場 工場長代理

樽林 陽一 AMED 執行役

泉 陽子 AMED 研究総括役

石井 健 AMED 戦略推進部長

※ 平成 28 年 10 月 26 日より

<ヒアリングにご協力いただいた有識者の方々（※）>

※ 個人の立場でご協力いただいた。

平成 28 年 7 月 15 日

日本赤十字社医療センター 化学療法科 國頭 英夫 様

慶應義塾大学 医学部 医療政策・管理学教室 宮田 裕章 様

平成 28 年 8 月 3 日

中外製薬株式会社 上席執行役員 菊池 満 様

オリンパス株式会社 執行役員 兼 事業開発室長 齊藤 吉毅 様

株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 取締役 常務執行役員 畠 賢一郎 様

平成 28 年 9 月 16 日

日本生命保険相互会社 商品開発部 部長 上田 哲也 様

東京海上日動火災保険株式会社

個人商品業務部 部長 兼 第三分野グループリーダー 柘植 信一郎 様

<委員会事務局>

事務局長 吉田 易範 AMED 臨床研究・治験基盤事業部長

事務局次長 大場 寛之 AMED 経営企画部次長

三宅 正裕 AMED 臨床研究・治験基盤事業部

西山 彩子 AMED 臨床研究・治験基盤事業部

武田 淳仁 AMED 産学連携部

宮岡 麻衣 AMED 戦略推進部