

創薬イノベーション再興の会 提言書

2025年5月13日

創薬イノベーション再興の会 提言書

医薬品産業が成長産業に向かうため、特定の利害関係にとらわれることなく、中立的な視点で、国民の健康寿命延伸と日本の経済成長を加速させる創薬・医療におけるイノベーション推進を実現させるべく、新費用対効果の導入、国民対話型のプラットフォームの実現、医療安全保障上の位置付け、総薬剤費名目成長率保証調整メカニズムの導入といった「未来を見据えた国家戦略」の方向性を示した。「価値があるから安心」と国民意識をシフトさせ、我が国の高齢社会を“試練”ではなく“希望”に転じる力とする。安全保障と経済成長を包摂する中長期的ビジョンとして、次期「骨太方針 2025」もしくはその上位戦略として盛り込むことを強く求める。

はじめに

医薬品は、病気を予防・治療して国民の健康・生命を守る、という重要な存在意義がある。近年のイノベーションにより、革新的な医薬品が開発され、これまで治らなかつた病気が治療できるようになる、予後が改善されるなど、国民生活に大きな貢献をしてきた。それは患者ニーズに応えるものである。他方、しばしば高額な薬価を伴う医薬品も出てきており、薬剤費の瞬間的な増加、財政的インパクトが懸念されている。またイノベーションによって多くの疾患が治療可能になったが、ドラッグ・ラグ(上市の遅延)やドラッグ・ロス(不上市)など生じ、その恩恵が我が国の患者に行き渡っていない現状もある。

また我が国の医薬品行政においては、度重なる薬価制度の変更など行われ、安定性を欠く部分があった。今後も我が国において世界に先駆けて優先的かつ継続的にイノベティブな医薬品が提供されるためには、日本市場が信頼と透明性を確保することが欠かせない。

本提言は、国民が実感できる医療の質向上と、制度の持続可能性を両立させるための改革が目的である。また、日本の医薬品産業はかつて世界に冠たる創薬力を誇っていたが、近年は競争力が低下し、ドラッグ・ラグやドラッグ・ロスも深刻化している。こうした状況を踏まえ、創薬を含むイノベーションを強化し、革新的医薬品を迅速かつ安定的に市場導入する仕組みを再構築することは、国民の福祉向上と公的医療保険制度の持続可能性確保に向けた喫緊の課題である。

提言の背景

本提言を今こそ検討すべき背景には、国民医療・経済を取り巻く環境変化が複合的にある。

第一に、安全保障上の課題である。パンデミックや地政学リスクにより国際医薬品供給網が寸断されると、旧来薬でさえ供給不足に陥る恐れがある。医療分野の自立性向上は、国家存立の基盤そのものに直結する国家的課題である。また、日米欧の医薬品市場が先行き不透明となる中、世界の資金は新たな成長拠点を求めている。我が国の制度がせめて欧米に匹敵するレベルでイノベーションを評価する信頼に足る制度であることを示し、透明かつ予見可能な制度設計を掲げれば、日本はアジアの医療イノベーション・ハブとして躍進する好機を十分に得ることができる。製薬産業は日本経済全体の成長を牽引する重要なエンジンとなり得る。

第二に、急速な高齢化と財政負担の拡大である。2025年には国民医療費が50兆円規模に達すると見込まれ、保険料の負担が増していく。その中で、革新的な医薬品を含めた質の高い医療が届けられなければ、国民が医療費の増大を納得し許容することは困難である。そのためには一定のイノベーションへの投資ができる程度に医療費を振り分けられなければならない。

第三に、創薬競争の激化である。我が国の製薬産業はかつて強力な基幹産業だったが、近年は研究開発力が低下し、優れた新薬の海外先行承認や未導入が相次いでいる。現に革新的な医薬品約80品目が未導入のままとなっており、これは現行制度の欠陥を如実に物語っている。これらを放置すれば、必要な医療を享受できない患者が増えるだけでなく、将来的な産業競争力・税収・雇用の源泉をも失うことになる。

一方で、現行制度には構造的な課題もある。第一に制度設計の思想が「安ければ良い」という一点に偏っていることである。「患者や社会が受益する価値に関係なく価格が下がる」仕組みが組み込まれていることが問題点として存在する。多くの新薬が毎年機械的に薬価を引き下げられるルールは国際的に例外的であり、コスト評価のみを重視しているため、革新性への対価が十分に反映されていない。

第二に薬剤費が財源調整の手段として利用されている。我々は財源を生み出すことを目的とするような中間年改定実施には反対である。しかしながら、市場実勢価格との乖離のみならず、必要なイノベーションの評価もあわせて、適時適切に調整を行なっていくことも必要である。また薬価改定で捻出した財源が診療報酬に全て充てられていなく、使途の透明性に課題がある。薬剤費は都合の良い財布ではない。プラスとマイナスの評価を客観的に行い、また財源が生み出された場合にはその使途を明確にし、イノベーションのための投資に充てるべきである。

第三に部分最適の横行である。これまで薬剤費のみを安く抑えることに特化して制度運営が進められてきたため、医療・介護・保健との整合性が取れず、医療全体の最適化が欠落している。医薬品が主にコスト削減のターゲットとなり、制度改革が断片化しているのではないかとの指摘もある。さらに近年、国民の医療に対する意識は多様化しており、高齢化に伴う未病・フレイル対策や健康維持への関心が高まっている。病気になった場合の治療は公的医療保険でカバーされるものの、予防や自己管理の促進など、医療・介護・保健を含む制度全体でどのような役割分担と資源配分を行うかについて、幅広い社会的議論が必要である。

以上を踏まえ、本会は医療全体の価値に立脚した4つの施策を柱として、国民参加・透明性を徹底した制度設計を行い、創薬イノベーションの再興と医療システムの持続可能性を両立させる改革を提言する。

施策1: 価値評価を正しく取り込める新「費用対効果」制度の導入

日本では、2019年4月より費用対効果評価制度が導入され、名目上は価値の高い医療技術とそれ以外の技術を切り分けるシステムと位置付けられ、制度の拡張も主張されている。しかし日本における費用対効果評価制度の実態は、ブラックボックス化されており、革新的な新薬や最先端の医療技術に対して狭い評価軸をもとに臨床的有用性を否定し、価格を引き下げる運用が多くなさ

れてきた。結果として「ドラッグ・ラグ」や「ドラッグ・ロス」といった現象を助長している。ドラッグラグ・ロスの問題に対して日本でのみ上市されているいわゆる「カントリードラッグ」の存在をもとに、費用対効果評価制度拡大の根拠とする主張もみられる。しかし現行の「カントリードラッグ」のほとんどは類似薬が存在する領域であり、制度拡大による医療費削減効果は望めなく、ドラッグラグ・ドラッグロス問題とは本質的に無関係である。

費用対効果評価制度の医療機器への適用例は少ないながらも存在するが、手術などの分野には公式の活用事例はない。制度設計の背景や評価基準が十分に公開されない現状は、企業の研究開発意欲をも低下させ、医療イノベーションの停滞を招いている。もともと費用対効果評価自体が多くの不確実性をはらむため、恣意的な運用がなされれば、結果はどのような形にも変わりうる。実際の評価事例について、諸外国の評価手法との齟齬や、臨床実態との乖離、さらに運用方法について科学的・方法論的な問題点が指摘された際に、諸外国の実態を歪曲して引用しつつ、ルールそのものを不利な方向に改訂するような運用も散見される。

この制度の最大の課題は、制度の妥当性・適切性を十分に評価されないままに発出された評価結果が、そのまま価格引き下げに直結するため、革新的な新薬の市場導入や開発に対する企業の意欲を削ぐ点にある。実質的に Cost と QALY のみの求心的な運用となっている現在の不透明なプロセスを検証・改善し、広汎な価値要素（仕事への影響や介助者・家族等の健康状態、社会的インパクト）を組み込んだ価値評価への抜本的改善を行うことが重要である。

施策2: 国民対話プラットフォームの整備

少子高齢化に伴い、働く世代を含め保険料が大きな負担となっている現状において、公的医療保険制度への信頼を回復することが重要である。政策決定の正当性を高めるためには、医療費全体が「いつ・どこに・いくら使われているか」を国民が一目で確認できる環境が不可欠である。薬価や診療報酬の算定根拠、保険財源の収支、さらには医療費の給付と負担の内訳までを統合した医療財政ダッシュボードを構築し、24 時間常時公開することで、支え合いの絆が可視化される仕組みを作ることを提案する。これにより、国民は保険料が医療サービスの質・量、かつ他の高齢者等へのサービスとどのように結び付いているかを具体的に把握でき、行政は合理的な説明責任を果たすことができる。このプラットフォームの運営主体としては、厚生労働省内に専従スタッフを配置した常設組織を設置し、単なる行政の付随業務ではなく、継続的かつ一貫した運営を保証する体制を整備する。

さらに、統計の“二重構造”を解消するため、政府と民間企業が共通の理解で議論できる民間データや共同で利用できる医薬品・医療市場データ共通基盤を創設する。省庁やステークホルダーが同一の市場規模・価格・流通データを参照することで、議論の出発点となるファクトを一致させ、政策論争の空転を防ぐことができる。民間データを活用する際には、データ品質の検証プロトコルとライセンスモデルを予め公開し、利害関係の透明性を確保する。データ漏洩やサイバー攻撃、買い占めや企業買収などによるデータ悪用を防止するセキュリティ対策と利用ルールを厳格に定め、

国民の信頼に応える体制を整える。

制度設計プロセスにも国民参加を組み込み、行政や専門委員会の審議では、パブリックコメントやオンライン公聴会を最大限に活用し、年間計画に基づき定期的を開催する。集まった意見は要約付きで公開し、採否理由を必ず明示することで、単なる「聞き置き」に終わらせない。特に診療報酬改定や薬価再算定の議論では、患者団体・医療現場・介護現場・企業・学术界など多様なプレイヤーからの知見を早期に取り込み、審議過程でリアルタイムに共有する。こうした「可視化＋対話＋共通データ」の三位一体の仕組みにより、医療費の使途と政策判断の根拠が国民に開かれ、納得感と予見可能性が飛躍的に向上する。透明で開かれた議論を通じて、真に国民参加型の医療政策を実現し、制度への信頼と社会的合意を盤石なものとする。

施策3:医療安全保障タスクフォースの設置とローバリュー医療の段階的退出

感染症の世界的流行や地政学的緊張の高まりは、原材料を含めた医薬品や医療機器のサプライチェーンを容易に分断させる恐れがある。実際、原薬や注射剤の輸入が滞っただけで、古典的なジェネリック薬までもが国内で不足する事態となっている。こうしたリスクに備えるには、単なる備蓄強化ではなく、平時からサプライチェーンの脆弱性を把握し、国産製造能力と多重調達ルートを確保する国家的戦略が不可欠である。

そこで本提言は、内閣府を司令塔に厚生労働省・経済産業省・財務省などの関係省庁に加え、製薬・医療機器・流通・学术界・患者団体・医療現場・介護現場を網羅した「医療安全保障タスクフォース」を新設することを提案する。これまでの官邸主導の組織体が省庁間の縦割りや実務能力の不足により十分な機能を果たせなかった教訓を踏まえ、専任スタッフと予算を確保し、実効性のある運営体制と明確な権限を持つことで、過去の類似組織の形骸化を防ぐ。

タスクフォースは、すべての医療資材について供給元、在庫量、代替手段をリアルタイムで可視化する“医療物資リスクマップ”を作成し、三年ごとに全国レベルの備蓄・優先供給計画を更新する。とりわけ、重要原薬の国内製造拠点の増設や複線化を促進し、後発医薬品の品質・供給を監視するGMP体制も強化する。また、国際共同治験で日本が外される懸念を払拭するため、治験環境の充実やデータ相互承認、倫理審査の迅速化を進め、国外企業から「日本も組み込む方が早い」と評価される制度環境を整備する。これにより、平時から革新的医薬品が海外と同時期に国内へ導入され、緊急時には迅速な特例承認が可能となる。

一方、国が限られた財源と製造キャパシティを真に価値ある医療へ集中させるには、社会的価値が低下した旧来薬や医療技術を漫然と保険で維持する体質を改める必要がある。タスクフォースは、施策1で創設する新費用対効果制度と連動させ、臨床効果や社会的便益が一定基準を下回る医薬品・技術を「ローバリュー医療」として分類し、代替治療の提示とともに段階的な点数縮減や保険退出を進める。「バリュー」の定義は新規性だけでなく、現に多くの患者に使われ効果を発揮している既存技術の社会的価値も含めた総合的な評価である。

同時に、撤退を余儀なくされる企業が研究開発や新規生産ラインへ円滑に転換できるよう、事業

転用や再投資を支援する。このように、本タスクフォースは備蓄・生産の量的確保と医療内容の質的刷新を一元的に推進する。旧来薬の安値維持に費やされてきた財源と製造ラインを高付加価値の創薬や先端医療に振り向けることで、平時はもとより非常時でも国民が最新かつ有効な治療を受けられる医療安全保障体制を構築する。さらに、可視化されたサプライチェーン情報は国外企業にとっても市場の透明度を高めるため、日本への投資誘因となり、長期的には医療産業エコシステムの強化に寄与する。なお、市場における薬不足が恒常化しているジェネリック医薬品については、現在、企業指標などの政策的な誘導策を数多く打ち出しているところであるが、これらによる「集中改革期間 5 年」での産業構造の抜本的な改革を強力に推進すべきである。

施策 4: 予見可能な「総薬剤費名目成長率保証調整メカニズム」等の導入

公的医療保険制度を長期にわたって持続させるうえで、薬価改定が毎年度の短期的な政治判断に左右され続ける現状は大きな不安定要因になっている。とりわけ薬剤費は、販売実績が想定を上回った革新的新薬や類似薬の価格が自動的に引き下げられる仕組みのため、企業にとっては投資回収の見通しが立ちにくく、国民にとっては「価格が一方に下がることで必要な薬が手に入らない」リスクも抱えている。

そこで本施策では、医療給付費のうち薬剤費部分を中長期的な名目 GDP 成長率に沿って伸ばす「総薬剤費名目成長率保証調整メカニズム」によって管理し、財源枠の上限と下限をあらかじめ数値で示す。これにより、財源捻出に伴う突発的で機械的な薬価引き下げが制度上発生しない予見性の高い環境を整える。新メカニズムでは、まず中長期的な経済成長率と連動して薬剤費の年間伸び率を設定し、その範囲を保証する形で薬価改定を行う。物価や人件費、為替などの経済指標が薬価に反映されにくいという従来の欠陥を補うため、指標連動のパラメータを導入し、開発リスクや原材料費の高騰が一定幅で価格に転嫁できる仕組みを用意する。こうしたメカニズムを導入することで、企業は長期投資計画を立てやすくなり、国民の負担増にも上限がかかる仕組みとする。

結果として、医療費の伸び率を健全な水準に維持しつつ、革新的医療技術への継続的投資を促進する、予見可能で持続可能な財政運営が実現する。

なお、「総薬剤費名目成長率保証調整メカニズム」導入後の検証を踏まえつつ、医療費全体の伸びを中長期的な GDP 成長率相当は確保する、いわゆる「医療費成長率調整メカニズム」の検討も提言する。

期待される効果および結語

本提言の施策が実行されれば、国民は「より質の高い治療により迅速にアクセスできる」という形で直接的な恩恵を受けることができる。より効果的で患者の生活の質を高める治療にアクセスできる、高い生活の質を維持しながら治療が受けられる患者が増える。医療費面でも、効果の乏しい医

療を合理的に削減して資源を再配分することで、医療費の伸びをより健全な水準に維持できる。さらに、透明で予見可能な制度設計は海外投資を呼び込み、研究開発や製造拠点が日本に集積する結果、雇用と税収の増大につながる。その結果、日本はアジア太平洋の医療イノベーションをリードする存在へと飛躍することが期待される。

以上の改革は、「安いから安心」ではなく「**価値があるから安心**」へと国民意識をシフトさせるものであり、医療全体を対象に透明性と国民参加を徹底した制度設計によって、高齢社会を“試練”ではなく“希望”に転じる力となる。そして次の日本を背負う世代に対して、前向きかつ力強い応援メッセージとなるだろう。本提言は、安全保障と経済成長を包摂する中長期的ビジョンとして、次期「骨太方針」もしくはその上位戦略として盛り込むことを強く求めるものである。

以上

創薬イノベーション再興の会メンバー
(五十音順)

五十嵐中	東京大学大学院薬学系研究科特任准教授
伊佐進一	前衆議院議員、厚生労働副大臣、公明党厚生労働部会長
岩崎真人	経営共創基盤シニアエグゼクティブフェロー
小黒一正	法政大学経済学部教授
川崎真規	一般社団法人新時代戦略研究所主任研究員
土居丈朗	慶應義塾大学経済学部教授
とかしきなおみ	元衆議院議員、厚生労働副大臣、衆議院厚生労働委員長、厚生労働部会長
橋本岳	前衆議院議員、厚生労働副大臣、衆議院厚生労働委員長、厚生労働部会長
原邦之	一般社団法人新時代戦略研究所シニアアドバイザー
真野俊樹	中央大学大学院戦略経営研究科教授
丸川珠代	前参議院議員、環境大臣、東京オリンピック・パラリンピック担当大臣
三ッ林裕巳	前衆議院議員、内閣府副大臣、衆議院厚生労働委員長
山田美樹	前衆議院議員、環境副大臣、GE 議連事務局長
鷲尾英一郎	前衆議院議員、外務副大臣、衆議院環境委員長
事務局	
朝井淳太	一般社団法人新時代戦略研究所代表
梅田一郎	一般社団法人新時代戦略研究所理事長