

令和 8 年 7 月 10 日

「創薬力向上のための官民協議会」 提出資料

わが国の創薬力向上に向けた取り組みの方向性について — 開発企業に選ばれる市場設計と持続可能な価値評価 —

法政大学経済学部

菅原琢磨

昨年度の提出資料でも述べた通り、創薬力向上に向けた取り組みの課題は、1) 主に技術的側面から見たわが国の創薬力の課題、2) 制度や規制などわが国固有の市場環境にかかる課題、3) 国際的視点でみた日本の相対的位置づけにかかる課題に概ね三分できると思料される。もっとも、この一年間で、これらの課題は相互に一層強く関連するようになってきている。以下、著者の専門性から 2)、3) を中心に触れたい。

特に重要なのは、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの性格が変化していることである。従来は、海外で承認された医薬品が日本で承認されるまでの「時間差」として捉えられることが多かった。しかし現在では、承認後の薬価、保険償還、普及、投資回収可能性を含め、企業がどの国・地域でどの順番に開発・上市するかという「戦略選択」の結果として表れるようになってきている。

すなわち、日本にとっての課題は、単に審査を速くすることではない。日本市場が、グローバル企業、スタートアップ、投資家にとって、最初から開発ロードマップに組み込む価値のある市場であり続けられるかどうかである。これらの観点から、以下の諸点を指摘したい。

1. 「選ばれる市場」としての予見可能性

近年、米国での広い適応取得を目指す戦略だけでなく、欧州で条件付き承認や限定された患者集団での承認を先行させ、承認後にエビデンスを積み増しながら価値を高める戦略が現実的な選択肢となっている。特に希少疾患、遺伝子治療、細胞医療、再生医療製剤などでは、限られた患者集団で早期に臨床的価値を示し、その後に適応拡大や追加データを蓄積する開発モデルが重要になっている。

この変化は、日本にとって重大である。日本も先駆的医薬品指定制度や条件付き承認制度、再生医療等製品の条件及び期限付き承認制度を整備してきたが、開発企業から見れば、承認後の薬価・材料価格、費用対効果評価、市場拡大再算定、薬価改定、適正使用条件などを含めた事業性が見通しが不十分であれば、日本を早期開発・早期上市の対象に含める誘因は弱くなる。

したがって、日本の政策課題は、薬事承認の迅速化だけではなく、承認後のアクセスと事業性の予見可能性を高めることである。革新的医薬品・再生医療等製品については、開発早期から薬事、保険償還、薬価・材料価格、費用対効果、適正使用、上市後エビデンス収集を一体的に相談できる枠組みを強化すべきである。

2. 価値と不確実性に基づく評価

創薬力の向上には、優れたイノベーションに対する正当な評価とリターンという誘因が欠かせない。原価計算方式は、もとより画期的なイノベーションの評価手法としては適さず、現在のように多くの企業、大学、スタートアップ、CDMO、CRO が関与する創薬プロセスでは、原価の正確な把握自体も困難である。

特に、細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬、放射性医薬品、再生医療等製品などでは、研究開発費、製造費、品質管理費、投与体制、効果発現の時間軸が従来型医薬品と大きく異なる。単回または短期間の治療で長期的な効果が見込まれる場合、初期費用は高額であっても、医療費、介護費、就労損失、家族負担、生命・生活の質への効果を含めれば、社会的には十分なリターンをもたらす可能性がある。

そのため、革新的医薬品の評価では、疾患の重篤性、既存治療に対する上乗せ価値、患者・家族・社会への便益、国内開発・早期上市への貢献、安定供給、承認時点のエビデンスの不確実性を総合的に評価すべきである。同時に、リアルワールドデータによる事後検証、アウトカム連動型支払い、段階的支払い、適正使用条件、価格の再評価を組み合わせることで、イノベーション評価と財政規律を両立させる必要がある。

とりわけ再生医療等製品については、既存制度を前提としつつも、その製品特性を踏まえ、承認審査、保険収載、薬価・材料価格算定、上市後検証を一体的に設計する制度モデルへと高度化することを検討すべきである。再生医療等製品は、細胞や組織の採取、加工、培養、保存、輸送、投与施設の体制、品質管理、患者ごとの個別性が製品価値と不可分に結びついており、また製造工程の変更が同等性、有効性、安全性に与える影響も大きい。したがって、薬剤又は材料そのものの価値だけでなく、製造・加工・品質管理・輸送・投与体制・長期フォローアップに要する費用と、患者・家族・社会にもたらす長期的便益を総合的に評価する必要がある。

これは、単純に高額な価格を容認するという趣旨ではない。むしろ、承認時点で不確実性が残る領域であるからこそ、患者アクセスを確保しつつ、実臨床で得られるデータに基づいて価値を検証し、価格、使用条件、対象患者を柔軟に見直す仕組みが必要である。価値の高いイノベーションには投資回収の予見可能性を与え、価値が十分確認されない支出については適切に抑制するという、より精緻な制度設計への転換が求められる。

3. 早期アクセスと上市後検証の一体化

欧州では、条件付き承認や早期アクセス制度を活用し、限られた患者集団で承認・使用を開始し、承認後にエビデンスを積み増す仕組みが、企業の開発戦略の一部となっている。日本においても、希少疾患、小児、重篤疾患、新規モダリティなどでは、すべての不確実性が解消されるまで患者アクセスを遅らせるのではなく、不確実性を制度的に管理しながら早期アクセスを実現する発想が重要である。

この観点から、日本においても、承認、薬価・材料価格、償還、使用条件、上市後評価を分断せず、開発段階から一体的に設計する枠組みを強化すべきである。たとえば、限定された対象患者、専門施設での使用、レジストリ登録、長期フォローアップ、上市後データ提出、一定期間後の価格・使用条件・対象患者の再評価を組み合わせることが考えられる。

この枠組みにより、患者には早期アクセスを、企業には開発・上市の予見可能性を、保険者には財政影響と有効性を検証する手段を提供できる。特に再生医療等製品のように、承認時点で得られる臨床データが限定的になりやすく、かつ長期的な有効性・安全性の確認が重要となる領域では、早期アクセスと上市後検証を一体化した制度運用の意義は大きい。

今後、日本が新規モダリティの分野で国際的な存在感を高めるためには、個別製品の承認迅速化だけでは十分ではない。製品特性に即した承認審査、価格評価、製造・品質管理、専門施設要件、長期フォローアップ、リアルワールドデータ活用を一体化した予見可能な制度モデルを示すことが、患者アクセス、保険財政、産業政策、国際競争力を同時に高めるための重要な政策課題である。

4. 国際価格環境への戦略的対応

インフレ、円安、治験費用・人件費・製造費用の上昇は、国内外企業の日本での開発・上市判断に影響している。医薬品価格は公定価格であるため、一般の財・サービスのように費用上昇を価格に転嫁しにくい。このことは、革新的医薬品のみならず、安定供給が求められる基礎的医薬品やバイオ医薬品の製造体制にも影響し得る。

さらに、米国における最恵国待遇価格政策の動きにより、日本の薬価がグローバル価格戦略に与える影響は大きくなる可能性がある。日本が「低価格国」として位置づけられれば、日本での早期上市が国際価格戦略上のリスクと見なされ、結果として日本市場が開発ロードマップの外側に置かれる懸念がある。

したがって、少なくとも真に革新的で医療上の必要性が高い医薬品については、特許期間中の薬価維持、早期導入への評価、希少疾病・小児・AMR等の市場規模が小さい領域への評価、新規モダリティの特性を踏まえた評価について、制度の安定性と予見可能性を高める必要がある。同時に、対象品目の範囲、上市后エビデンスの提出、適正使用、安定供給への責任を明確にすることで、保険財政との均衡を確保すべきである。

5. 比較優位への集中とアジア展開

現在の創薬プロセスは一国で完結するものではなく、グローバルなサプライチェーン、資本市場、人材市場、薬事規制、研究ネットワークの中で展開されている。日本国内だけで米国型の巨大な創薬エコシステムを短期間に再現することは現実的ではなく、効率的とも思われない。

日本が重点を置くべきは、グローバルな創薬エコシステムの中で、比較優位を持てる機能を明確にし、そこに官民の資源を集中することである。候補としては、iPS細胞・再生医療、細胞製造、核酸医薬、抗体・バイオ医薬品の製造技術、放射性医薬品、精密医療、希少疾患、小児、リアルワールドデータ、国際水準の臨床試験、品質管理・製造管理、規制科学などが考えられる。

また、人口減少が進む日本市場だけで、グローバル企業や投資家に十分な魅力を示し続けることには限界がある。日本は、アジアの友好近隣国との連携を通じて、臨床試験、薬事規制、製造・品質管理、リアルワールドデータの面で相互運用性を高めるべきである。日本を「日本市場に上市するための国」ではなく、「日本を通じてアジア、さらに世界へ展開できる創薬・開発・製造・規制のプラットフォーム」として位置づけることが重要である。

6. 「選ばれているか」を測る政策評価

今後の政策効果を検証するためには、支援予算額や採択件数だけでなく、日本が開発企業や投資家から選ばれているかを示す指標を設定すべきである。

具体的には、国際共同治験への日本参加率、FIH(First-in-Human)試験件数、国内開発の前倒し件数、PMDA相談件数、条件付き承認・早期アクセス制度の活用件数、上市

後レジストリ整備状況、ドラッグ・ラグ／ロスの改善状況、スタートアップの資金調達額、企業導出・M&A 件数、国内外企業による研究開発・製造投資などを継続的に把握する必要がある。

わが国の創薬力向上策は、研究開発支援、薬事規制、薬価・材料価格制度、保険財政、産業政策、国際戦略を分断せず、患者アクセス、企業の投資誘因、保険者財政、社会全体の厚生を同時に高める一体的な政策パッケージとして設計されるべきである。

以上

July 10th, 2026

Direction of Efforts to Enhance Japan's Drug Innovation Capability

—Designing a Market Selected by Developers and a Sustainable Framework
for Value Assessment—

Faculty of Economics, Hosei University
Takuma Sugahara

The challenges involved in enhancing Japan's drug innovation capability can broadly be divided into three categories: 1) challenges related to Japan's drug innovation capability, primarily from a technological perspective; 2) challenges related to Japan's domestic market environment, including systems and regulations; and 3) challenges related to Japan's relative position from an international perspective. Over the past year, however, these challenges have become even more closely interrelated. Below, I would like to focus on points 2) and 3) based on the author's area of expertise.

Of particular importance is the changing nature of drug lag and drug loss. Traditionally, these issues have often been understood as a "time lag" between the approval of a pharmaceutical product overseas and its approval in Japan. Today, however, they increasingly appear as the result of a company's "strategic choice" regarding in which country or region, and in what order, it will develop and launch a product, taking into account not only approval timing but also post-approval pricing, reimbursement, uptake, and the prospects for recouping investment.

In other words, Japan's challenge is not simply to accelerate regulatory review. The essential question is whether the Japanese market can continue to be a market that global companies, start-ups, and investors consider worth incorporating into their development roadmaps from the outset. From this perspective, I would like to make the following points.

1. Predictability as a Market Selected by Developers

In recent years, development strategies have become increasingly diversified. In addition to strategies aimed at obtaining broad indications in the United States, it has become a realistic option to seek conditional approval or approval for a limited patient population first in Europe, and then to build value by accumulating additional evidence after approval.

This development model is particularly important in areas such as rare diseases, gene therapy, cell therapy, and regenerative medical products, where clinical value may first be demonstrated in a limited patient population, followed by indication expansion and accumulation of additional data.

This change has significant implications for Japan. Japan has established systems such as the designation system for pioneering drugs, conditional approval systems, and the conditional and time-limited approval system for regenerative medical products. However, from the perspective of developers, if business prospects after approval remain insufficiently predictable, including NHI drug prices and material prices, cost-effectiveness assessment, market expansion repricing, drug price revisions, and appropriate use requirements, the incentive to include Japan in early development and early launch strategies will be weakened.

Therefore, Japan's policy challenge is not limited to accelerating regulatory approval. It is also necessary to enhance the predictability of post-approval access and business viability. For innovative pharmaceuticals and regenerative medical products, Japan should strengthen frameworks that allow integrated consultation from the early stages of development on regulatory matters, reimbursement, NHI drug prices and material prices, cost-effectiveness assessment, appropriate use, and post-marketing evidence generation.

2. Value Assessment and Management of Uncertainty

Enhancing drug innovation capability requires incentives that provide fair assessment and returns for outstanding innovation. Cost-accounting methods are not well suited to evaluating breakthrough innovation. Moreover, in today's drug innovation process, in which many companies, universities, start-ups, CDMOs, and CROs are involved, it is itself difficult to accurately identify costs.

In particular, for cell therapy, gene therapy, nucleic acid medicines, radiopharmaceuticals, and regenerative medical products, the structure of research and development costs, manufacturing costs, quality control costs, administration systems, and the time horizon over which effects are realized differs substantially from that of conventional pharmaceuticals. Where a single treatment or a short course of treatment can be expected to produce long-term effects, the initial cost may be high, but from a societal perspective the return may be sufficient when reductions in medical costs, long-term care costs, productivity losses, family burden, and improvements in life and quality of life are taken into account.

Accordingly, the value assessment of innovative pharmaceuticals should comprehensively consider the severity of the disease, added value over existing treatments, benefits to patients, families, and society, contribution to domestic development and early launch in Japan, stable supply, and the uncertainty of evidence at the time of approval. At the same time, value assessment of innovation and fiscal discipline should be reconciled by

combining post-marketing verification using real-world data, outcome-based payment, installment payment, appropriate use requirements, and price reassessment.

In particular, with regard to regenerative medical products, while building on the existing systems, Japan should consider upgrading them into an integrated institutional model that designs regulatory review, insurance listing, NHI drug price and material price calculation, and post-marketing verification in a coordinated manner, taking into account the distinctive characteristics of these products. In regenerative medical products, the collection, processing, culture, storage, and transport of cells and tissues, the systems of facilities administering the product, quality control, and patient-specific characteristics are inseparably linked to the value of the product itself. Changes in the manufacturing process may also have a substantial impact on comparability, efficacy, and safety. Therefore, it is necessary to comprehensively assess not only the value of the drug or material itself, but also the costs required for manufacturing, processing, quality control, transport, administration systems, and long-term follow-up, as well as the long-term benefits brought to patients, families, and society.

This does not mean simply accepting high prices. Rather, precisely because uncertainty remains at the time of approval in these areas, a system is needed that secures patient access while verifying value based on data obtained in actual clinical practice and flexibly reviewing prices, conditions of use, and eligible patient populations. A transition is required toward a more refined institutional design that provides predictability for investment recovery where innovation is of high value, while appropriately restraining expenditures where value is not sufficiently confirmed.

3. Integration of Early Access and Post-Marketing Verification

In Europe, conditional approval and early access systems are used to begin approval and use in limited patient populations, followed by accumulation of evidence after approval. These mechanisms have become part of corporate development strategies. In Japan as well, for rare diseases, pediatric diseases, serious diseases, and new modalities, it is important to realize early patient access while institutionally managing uncertainty, rather than delaying access until all uncertainty has been eliminated.

From this perspective, Japan should strengthen frameworks that integrate regulatory approval, NHI drug prices and material prices, reimbursement, conditions of use, and post-marketing assessment from the development stage, rather than treating them separately. Possible approaches include combining limited eligible patient populations, use at specialized facilities, registry enrollment, long-term follow-up, submission of post-marketing data, and reassessment of prices, conditions of use, and eligible patient populations after a specified period.

Such a framework would provide patients with early access, developers with predictability in development and launch, and insurers with means to verify both fiscal impact and

effectiveness. This is particularly significant in areas such as regenerative medical products, where clinical data available at the time of approval may be limited and where long-term confirmation of efficacy and safety is essential.

For Japan to enhance its international presence in the field of new modalities, it will not be sufficient merely to accelerate approval of individual products. An important policy challenge is to present a predictable institutional model that integrates regulatory review, price assessment, manufacturing and quality control, requirements for specialized facilities, long-term follow-up, and the use of real-world data in accordance with product characteristics. This will be essential for simultaneously improving patient access, fiscal sustainability, industrial policy outcomes, and international competitiveness.

4. Strategic Response to the International Pricing Environment

Inflation, the depreciation of the yen, and rising costs for clinical trials, personnel, and manufacturing affect decisions by domestic and foreign companies regarding development and launch in Japan. Since pharmaceutical prices are publicly determined, it is difficult to pass cost increases on to prices as in ordinary goods and services. This may affect not only innovative pharmaceuticals but also the manufacturing systems for essential pharmaceuticals and biopharmaceuticals for which stable supply is required.

Furthermore, developments in the United States regarding most-favored-nation pricing policies may increase the influence of Japanese drug prices on global pricing strategies. If Japan is positioned as a “low-price country,” early launch in Japan may be regarded as a risk in terms of international pricing strategy, potentially resulting in Japan being placed outside development roadmaps.

Therefore, at least for pharmaceuticals that are truly innovative and have high medical necessity, it is necessary to enhance the stability and predictability of systems related to maintaining NHI drug prices during the patent period, evaluating early introduction, recognizing areas with small market size such as rare diseases, pediatric indications, and antimicrobial resistance, and reflecting the characteristics of new modalities. At the same time, balance with health insurance finances should be secured by clearly defining the scope of eligible products, the obligation to submit post-marketing evidence, appropriate use, and responsibility for stable supply.

5. Concentration on Comparative Advantage and Expansion into Asia

The current drug innovation process is not completed within a single country. It is conducted within global supply chains, capital markets, labor markets, regulatory systems, and research networks. It is neither realistic nor efficient for Japan to attempt to recreate,

within a short period, a large-scale drug innovation ecosystem of the kind found in the United States.

Japan should instead identify the functions in which it can develop comparative advantage within the global drug innovation ecosystem and concentrate public and private resources on those areas. Candidate areas may include iPS cells and regenerative medicine, cell manufacturing, nucleic acid medicines, manufacturing technologies for antibodies and biopharmaceuticals, radiopharmaceuticals, precision medicine, rare diseases, pediatrics, real-world data, internationally competitive clinical trials, quality and manufacturing control, and regulatory science.

In addition, given Japan's declining population, there are limits to the extent to which the Japanese market alone can continue to present sufficient attractiveness to global companies and investors. Japan should enhance interoperability with friendly neighboring countries in Asia in areas such as clinical trials, pharmaceutical regulation, manufacturing and quality control, and real-world data. It is important to position Japan not merely as a country in which products are launched for the Japanese market, but as a platform through which drug innovation, development, manufacturing, and regulation can be expanded into Asia and, further, to the world.

6. Policy Evaluation Based on Whether Japan Is Being Selected

In evaluating future policy effects, Japan should establish indicators that show whether it is being selected by developers and investors, rather than simply tracking the amount of public support or the number of projects adopted.

Specifically, it is necessary to continuously monitor Japan's participation rate in international joint clinical trials, the number of First-in-Human trials, cases in which domestic development is brought forward, the number of PMDA consultations, use of conditional approval and early access systems, development of post-marketing registries, improvements in drug lag and drug loss, financing raised by start-ups, licensing-out and M&A transactions, and research, development, and manufacturing investments by domestic and foreign companies.

Japan's measures to enhance drug innovation capability should be designed as an integrated policy package that does not treat research and development support, pharmaceutical regulation, NHI drug price and material price systems, health insurance finances, industrial policy, and international strategy separately, but instead simultaneously improves patient access, incentives for corporate investment, insurer finances, and social welfare as a whole.

End