

<b>第5回 創薬・先端医療 ワーキンググループ</b>	<b>資料1</b>
<b>令和8年4月6日</b>	

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組

令和8年4月6日 日本成長戦略会議 第5回創薬・先端医療WG

## 現状認識

- 海外に比べ国内での開発着手が遅れるドラッグラグや、日本が開発初期段階の対象国とならないドラッグロスが生じているとの指摘については、これまで学会や患者会等からの未承認薬・適応外薬に関する要望に加え、国が能動的に企業への開発要請等を行う枠組みを構築し、個別の対応を進めてきたところ。
- 小児や希少疾患領域、平時は国内において発生が想定されない感染症領域では患者数の制約や症例集積体制の不足により、国内で治験・臨床研究を迅速に進める基盤が十分に整っていない場合もあり、また海外ベンチャー企業が開発した医薬品等については、我が国の国際共同治験への参画も不十分な状況。
- 治験全体の実施件数は伸び悩んでおり、医療機関・研究者の体制や事務負担といった環境面の課題が、国内開発の遅れにつながりかねない状況にあり、それが必要な医薬品が患者に届くまでに時間を要する要因となる懸念もあることから、研究開発環境の強化は引き続き重要な政策課題と考えられる。

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組 主な取組（１） 企業への開発要請又は開発公募

- 開発未着手の医薬品について、国が能動的に企業への開発要請等を行う枠組みを構築。

具体的には、

- ① まず国において、国内開発未着手の医薬品の情報整理を行い、
- ② 未承認薬・適応外薬検討会議において、それらの医薬品の医療上の必要性を判断、
- ③ それを踏まえ、国から企業への開発要請や開発企業の公募を行う。

従来のルート

学会・患者会等からの  
未承認薬・適応外薬の要望



新規ルート

①国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

※令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へニーズ調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施



②医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（医療上の必要性を判断）



③企業に対して開発要請

③開発企業を公募

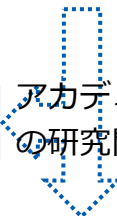


企業による治験の実施等



薬事承認申請

アカデミア  
の研究開発



※ 取組については参考資料（P4～P7）を参照。

医政局研究開発政策課  
(内線4165)

施策名: 未承認薬等迅速解消促進調査事業

## ① 施策の目的

欧米では承認されているが日本では承認されていない未承認薬について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行い、未承認薬・適応外薬検討会議における評価・開発要請等の加速化を図ることで、ドラッグ・ロスの解消に向けて取り組む。

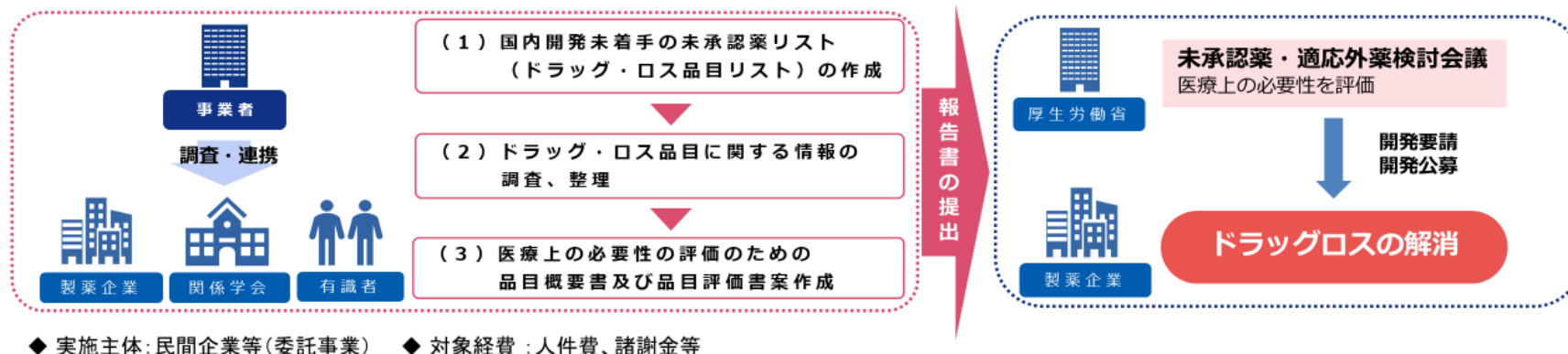
## ② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

## ③ 施策の概要

- ・ドラッグ・ロス品目について、製薬団体への国内での開発の有無の調査、関係学会への国内の医療現場におけるニーズの調査を行う。
- ・国内のニーズがあり、開発の必要性の高い品目について、海外の承認状況、有効性・安全性のデータ等の情報収集を行い、未承認薬・適応外薬検討会議での医療上の必要性を評価するための報告資料の作成を行う。
- ・令和7年に実施した調査結果を踏まえ、新たに判明したドラッグ・ロス品目についてより迅速に対応を図るべく情報収集・報告資料の作成について取組を強化する。

## ④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



## ⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

現在生じているドラッグ・ロスのうち、我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等について2027年度までに開発に要請・公募。

## ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2016~2020年に欧米で承認された医薬品のうち、2023年3月時点で日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は143品目。
- そのうち、そもそも開発未着手で、承認申請すらなされない医薬品が86品目（60.1%）。  
⇒ **ドラッグラグ・ロスの発生**
- 開発未着手の86品目は、ベンチャー※<sup>1</sup>発の医薬品やオーファン、小児※<sup>2</sup>の割合が大きい。  
※1：日本に開発拠点を有さない企業が多く、日本の薬事制度等を把握していない可能性が高い。  
※2：市場規模が小さい等の理由から、開発が進みづらい。

### 日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

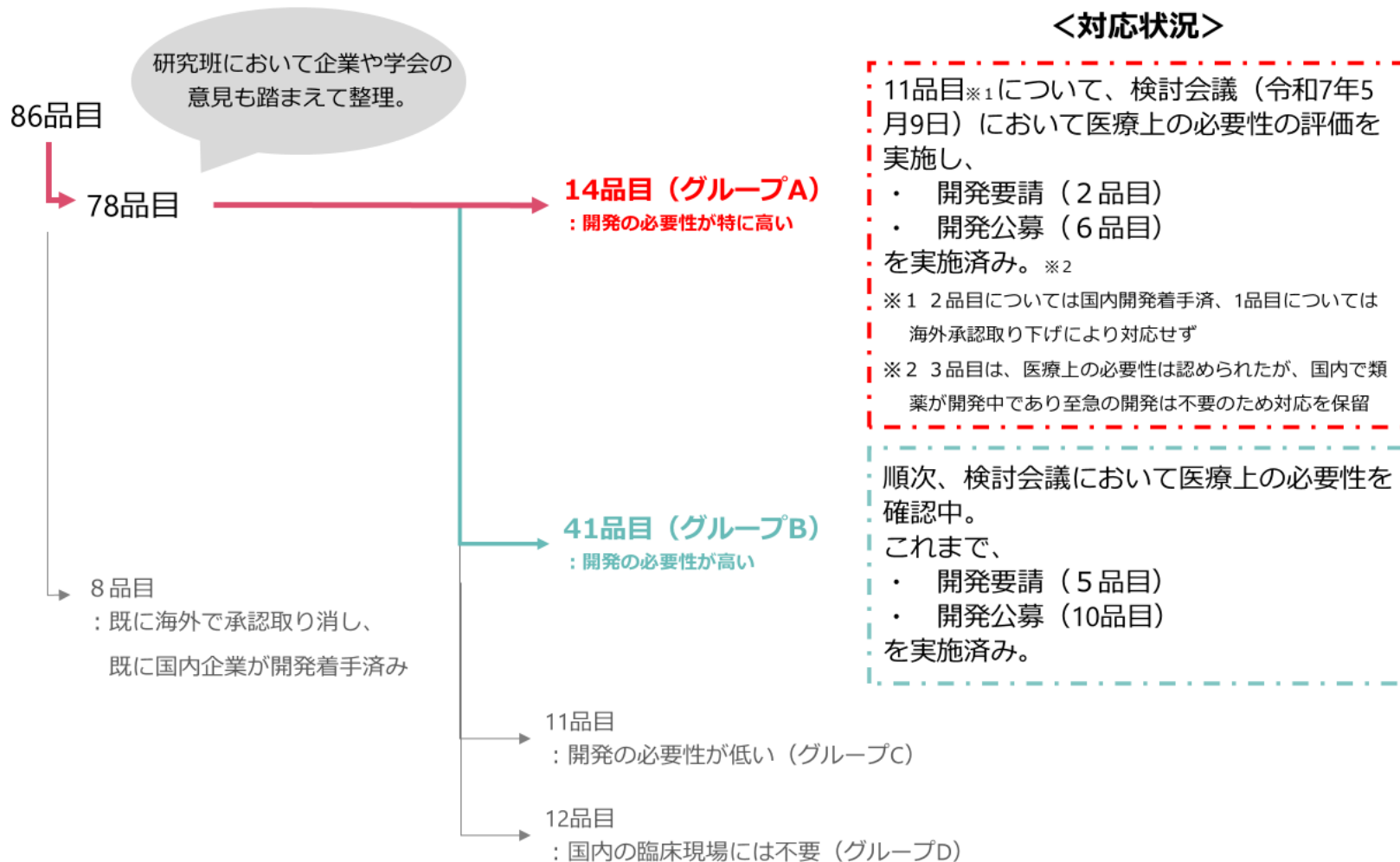
	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	<b>86</b> (品目)

### 日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
<b>56</b> % (48品目)	<b>47</b> % (40品目)	<b>37</b> % (32品目)

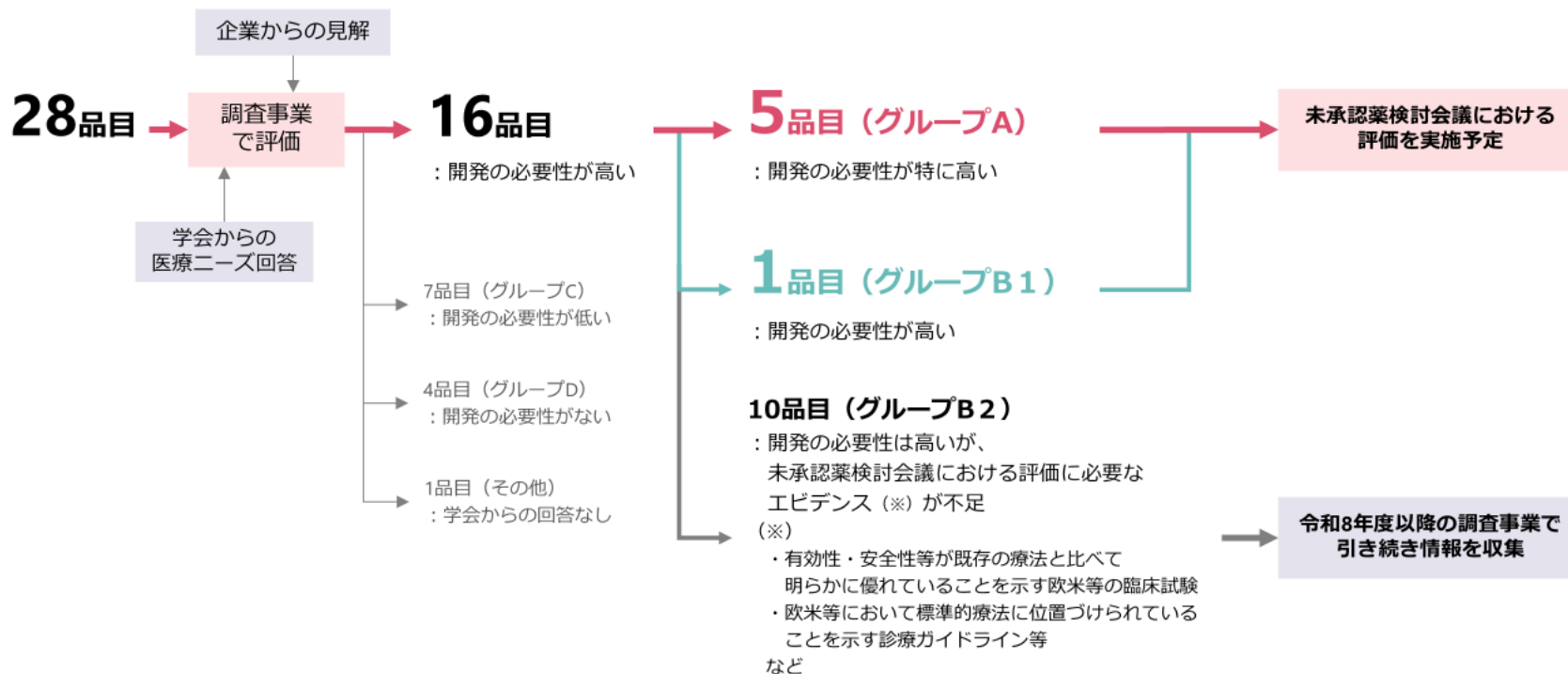
※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

2020年12月末までに発生したドラッグ・ロスへの対応状況  
(令和8年3月時点)



2021年1月～2023年3月末までに発生したドラッグ・ロスへの対応  
(令和8年4月6日公表)

- 令和7年度未承認薬等迅速解消促進調査事業において、2021年1月1日から2023年3月31日の間に欧米で承認された医薬品のうち、2025年3月31日時点で国内開発未着手の医薬品を調査した結果、**28品目**が該当。
- この28品目を対象として、学会からの医療ニーズ、企業からの見解等を踏まえた開発の優先順位を整理。
- 整理の結果、28品目のうち、**開発の必要性が特に高い**とされたのが**5品目(グループA)**、**開発の必要性が高い**とされたのが**1品目(グループB1)**。
- この6品目について、今後、未承認薬検討会議における医療上の必要性の評価を経て、企業への開発要請及び開発公募を実施予定。



# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組 主な取組（２） 小児・希少疾患の開発促進

- 患者数が少ない小児・希少疾病等に対する治療薬の研究開発が進みにくく、こうした疾患を持つ患者の方に必要な治療を届けるため、
  - 日本医療研究開発機構を通じた企業等による研究開発の支援
  - 希少疾病用医薬品として指定された品目について開発に係る経費の負担を軽減するため、医薬基盤・健康・栄養研究所を通じた助成を行うとともに、優先的に承認審査を行う
  - 小児医薬品の開発を推進するため医療機関間・産学官患ネットワークの強化
  - 海外ベンチャー企業が実施する国際共同治験を日本で実施するための呼び込み
  - PMDAにおける小児・希少疾病用医薬品等に係る薬事相談に対応するための相談センターの設置といった様々な取組を支援しているところ。

例：臨床研究・治験推進研究事業

## ＜支援に係る主なコンセプト＞

疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

臨床研究・治験の推進

①患者ニーズの高いもの

- 臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成
- 特定臨床研究の実施
- 医師主導治験（新有効成分、新効能、新用量医薬品）の実施
- 認知症を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験等の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験の実施

②新しい手法を活用するもの

- 疾患登録システム（患者レジストリ）等を、薬事承認申請に利用可能な比較対照群等に利活用する、特定臨床研究・医師主導治験の実施
- デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用した特定臨床研究・医師主導治験（Decentralized Clinical Trial；分散型臨床試験）のプロトコールの作成、実施

※ その他の関連する取組については参考資料（P9～P15）を参照。

## 臨床研究・治験推進研究事業

### 1 事業の目的

- 有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、早期の薬事承認に繋がらない。
- 日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・治験を推進する。

### 2 事業の概要・スキーム

- ・ 第3期の健康・医療戦略において実用化の推進がキーワードとなっているなか、最も医薬品開発の出口に近い臨床開発段階にある有望な臨床研究・治験等を実施するため、本事業では多くの新規課題を支援する必要がある。
- ・ 革新的な医薬品を創出すべく、アカデミア主導の臨床研究・医師主導治験の支援を促進している一方、現状の公募では採択数が限られており、有望な研究課題も不採択にせざるを得ない状況にあるため、採択課題数の増加は必須である。
- ・ 革新的医薬品の開発は成功確率が低い一方で、開発コストは年々増加しているため、特に希少疾病や小児領域等の患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業による開発が進みにくい領域において、引き続き臨床研究・治験等を推進する。

#### <支援に係る主なコンセプト>

疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

#### 臨床研究・治験の推進

##### ① 患者ニーズの高いもの

- 臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成
- 特定臨床研究の実施
- 医師主導治験（新有効成分、新効能、新用量医薬品）の実施
- 認知症を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験等の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験の実施

##### ② 新しい手法を活用するもの

- 疾患登録システム（患者レジストリ）等を、薬事承認申請に利用可能な比較対照群等に利活用する、特定臨床研究・医師主導治験の実施
- デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用した特定臨床研究・医師主導治験（Decentralized Clinical Trial；分散型臨床試験）のプロトコールの作成、実施

### 3 実施主体等

- ◆ 補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED） ◆ 補助率：定額 ※AMEDにおいて公募により研究者・民間事業者等を選定

施策名：革新的な医薬品を創出するための臨床研究・医師主導治験の推進  
(臨床研究・治験推進研究事業)【AMED研究】

医政局研究開発政策課  
(内線2542)

① 施策の目的

「健康・医療戦略(第3期)」(令和7年2月18日閣議決定)において、実用化の推進がキーワードとなっているなか、最も医薬品開発の出口に近い臨床開発段階にある有望な臨床研究・治験を実施しなければ、有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、早期の薬事承認には繋がらない。  
革新的医薬品の開発は成功確率が低い一方で、開発コストは年々増加しているため、特に希少疾病や小児領域等の患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業による開発が進みにくい領域において、引き続き臨床研究・治験等を支援する必要がある。

② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

③ 施策の概要

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・医師主導治験を推進する。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)  
※AMEDにおいて公募により研究者・民間事業者等を選定

⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

研究成果が企業へ導出・早期承認につながることで、一日も早く革新的医薬品が社会実装され、患者に届くことに貢献する。

施策名:小児医薬品開発ネットワーク支援事業

① 施策の目的

「経済財政運営と改革の基本方針2025」(令和7年6月13日閣議決定)等において、ドラッグラグ/ロスの解消の必要性が指摘されており、特に患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業による開発が進みにくい小児領域における医薬品開発の促進は、喫緊の課題である。

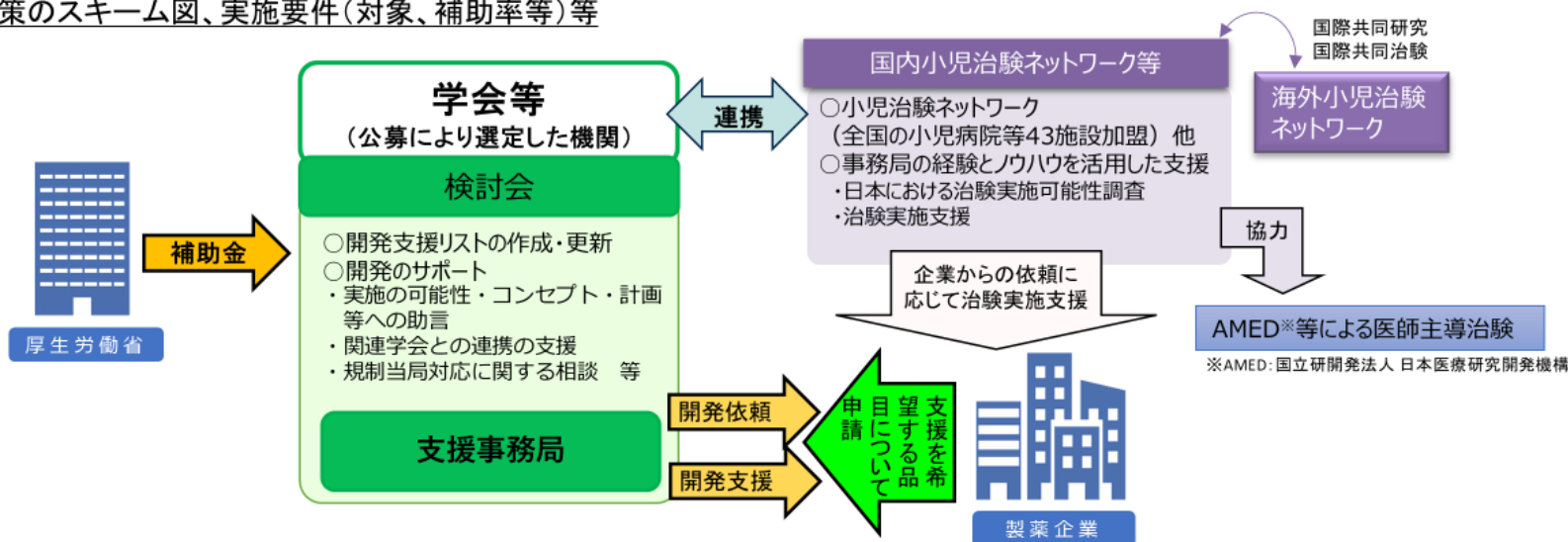
② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

③ 施策の概要

開発を支援すべき小児用医薬品のリストの作成・更新や、企業に対する開発支援(各種情報提供、専門機関等への紹介、相談に対する助言、関連学会との連携の支援、被験者リクルートの支援等)を行うとともに、ネットワークの活用により小児治験の被験者組み入れを加速することで、小児用医薬品の開発を促進する。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

小児用医薬品の開発促進においては、製薬企業担当者等からも審査当局との連携が求められているため、令和7年度から開始したPMDAの取組との連携や、本事業の成果物(小児IAF/ICFの文例集改訂等)を活用した治験実施支援に関する取組強化など、早期に開始することにより、効果的な小児の開発促進に繋がり、ドラッグラグ/ロスの解消に寄与する。

拡  
充

## 小児医薬品開発支援体制強化事業

### 1 事業の目的

小児用医薬品のドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスが深刻化する中で、「経済財政運営と改革の基本方針 2023（令和5年6月16日閣議決定）」や「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 中間とりまとめ（令和6年5月22日）」等において、小児用医薬品開発の促進が指摘されている。小児領域の医薬品開発を促進するため、国立成育医療研究センターにおける小児用医薬品開発の支援体制を強化し、小児用医薬品開発のサポート（製薬企業、アカデミア等への開発サポート等）を強化する。

さらに、日本における産官学患の4者が参画する小児医薬品開発推進コンソーシアムの本格始動に伴い事務局機能を拡大し、より良い小児医薬品等の開発環境を整備するとともに、小児治験に関する人材育成・研修業務を強化する。

### 2 事業の概要・スキーム



厚生労働省

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

#### (i)小児医薬品開発支援の体制強化

・アカデミア等からの出向者の受け入れ、SMO/CROへの業務委託

#### (ii)小児医薬品開発支援内容の充実

・新たにアカデミア主導での小児医薬品開発を支援  
 ・開発のサポート（実施の可能性・コンセプト・計画等への助言、関連学会との連携の支援、規制当局対応に関する相談等）  
 ・国内における使用実態等公知申請に必要な情報収集の支援（小児医療情報収集システム（DB）活用による情報収集を含む）  
 ・開発企業がない小児用医薬品の開発に関して、必要に応じて治験を支援（※）し、企業導出を支援（プロトコル作成助言等）  
※国立研開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）臨床研究・治験推進研究事業

#### (iii)小児治験ネットワークとの連携・体制強化

・小児治験ネットワーク体制の強化、産学官患からなる小児医薬品開発推進のコンソーシアムの本格始動に伴う事務局機能の拡大  
 ・国内小児治験について、小児治験ネットワーク等につなぎ、被験者の組入れを加速化

#### (iv)小児治験に関する普及啓発・研修の実施

・保護者、患者会：DCTを含む小児治験の普及啓発による患者参画の推進（関係学会と連携）  
 ・医療従事者：小児用医薬品治験に関する理解、DCT治験に関する知識を広めるための講習会を開催  
 ・製薬企業：小児治験ネットワーク及び本支援スキームの普及啓発の強化  
 ・関係学会：治験登録促進の呼びかけ、DCTの理解・普及啓発

等

### 3 実施主体等

◆ 実施主体：国立研究開発法人 国立成育医療研究センター ◆ 補助率：定額 ◆ 対象経費：補助金（人件費等）

施策名: 特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業

① 施策の目的

超希少疾患を対象とした治療薬や遺伝子治療等の技術、平時は国内において発生が想定されない感染症治療薬などは、それらの導入が国民に対する質の高い医療の提供及び医療研究開発のイノベーションに寄与するものである一方、事業性が極めて乏しく、従来の基盤整備施策のみでは企業による開発着手・技術蓄積には至らず、それらの技術開発の機会を逃す状況にある。こうした領域の研究開発について、より個別的・積極的な支援を行うことにより、革新的医薬品や新規医療技術のイノベーションを推進する

② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

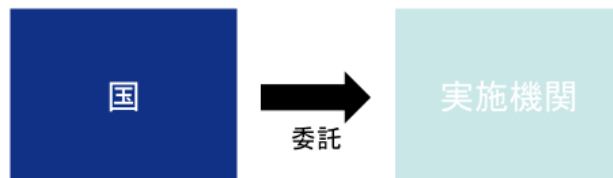
③ 施策の概要

超希少疾患の中でも患者数が1名から数十名規模の薬事承認取得が特に困難な疾患を対象に、保険外併用療養費制度を利用した特定臨床研究・医師主導治験等の実施を支援することで、海外で承認済みで国内未承認の医薬品・再生医療等製品又は国内で臨床研究が進んでいるが未承認の遺伝子治療等へのアクセスを確保するとともに、当該技術等の有効性・安全性に関する知見の収集を進め、個別の技術等の状況に応じて、最適な社会実装方策へつなげる。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等

【調査・準備】

- ・対象とする技術等の候補の調査
- ・事業スキームの検討
- ・プロトコルの検討



次年度以降：有効性・安全性に関する知見の収集

代表機関：国立高度専門医療研究センター等  
協力機関：臨床研究中核病院  
※医師主導治験・保険外併用療養費制度の活用



⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

補正予算において、対象とする技術等の調査及び事業スキームの検討等を進め、課題を抽出することで、我が国における新技術等の創出・実用化の取組を加速化する。

PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業

医薬局医薬品審査管理課  
(内線2746)

令和8年度当初予算案 99百万円 (1.2億円) ※ ()内は前年度当初予算額

1 事業の目的

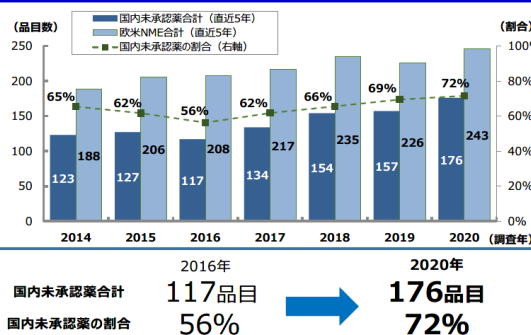
- 近年、希少疾病用・小児用等の医薬品を中心に、欧米では承認されている医薬品が日本で開発されない、**ドラッグ・ロスの拡大**が指摘されている。
- 我が国にとって医療上必要な医薬品の導入を促進するため、厚労省の検討会(※)において**薬事規制の大幅な見直し**を進めるとともに、その実行のため、**令和6年度より「PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置し、以下の対応を進めている。**

- ① 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
- ② 小児用薬の開発計画の策定を企業に促しPMDAが確認する仕組みの対応の促進
- ③ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における評価の加速化
- ④ PMDA相談手数料の企業等への補助

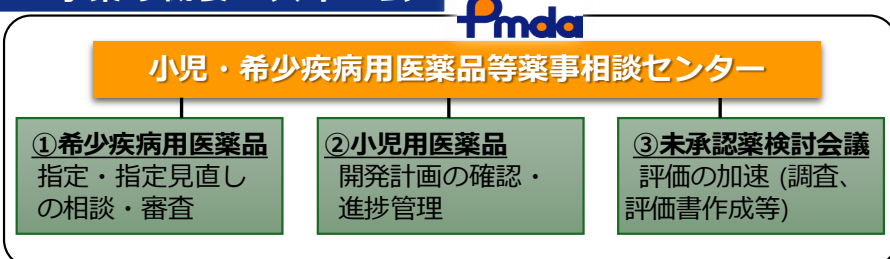
(※) 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(令和6年4月報告書とりまとめ)

- 令和8年度は、①見直しに伴う**希少疾病用医薬品の指定増加等に対応するための審査体制の確保**を行うとともに、②**未承認薬等検討会議において学会等の要望を待たずに国が主導的に評価・開発要請を行うスキーム**に迅速に対応する。

増加する国内未承認薬



2 事業の概要・スキーム



PMDA相談手数料の補助

対象：上記①・②に関して企業が支払う相談手数料。未承認薬等検討会議での開発公募品や医師主導治験による開発品。

3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・相談手数料の補助(企業、アカデミア等)
- ・体制確保の人件費：補助率50/100等

## 希少疾病用医薬品等開発支援事業

大臣官房厚生科学課（内線3823）

令和8年度当初予算案 7.1億円（7.2億円）※（）内は前年度当初予算額

※令和7年度補正予算額 3.5億円

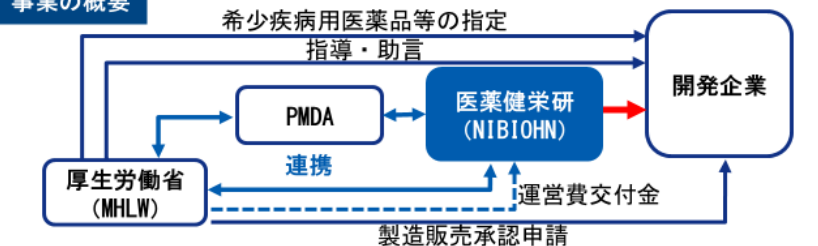
### 1 事業の目的

難治性の希少疾病の治療を目的とする医薬品、医療機器及び再生医療等製品は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく利潤が上がりにくい  
ため、製薬企業が開発に取り組みにくく、開発がなかなか進まない。このため、平成5年に希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進制度、加えて  
平成25年には希少疾病用再生医療等製品の同制度も創設され、本事業において、厚生労働大臣による希少疾病医薬品の指定を受けた品目の開発する企業に  
対し、製造販売承認申請に必要な試験研究費の直接経費に対し助成金を交付等する。

令和5年度の「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」での議論を踏まえ、オーファンの指定要件が緩和され、開発する  
企業からの助成金申請数増加が見込まれるため拡充要求を行うものであり、医療上の必要性の高い希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器、希少疾病用再生  
医療等製品が一日も早く医療現場に提供されることを目的とする。

### 2 事業の概要・スキーム

#### 事業の概要



#### 助成金交付対象

助成対象: 大臣指定を受けた次の品目

- ・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



対象期間: 原則最大3年間

(大臣指定を受けた日以降から製造販売承認申請まで)

助成金額: 助成対象費用の1/2を限度として予算の範囲内で配分

#### 開発スキームにおける事業対象期間



### 3 実施主体等

#### 実施主体



国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所

助成金

開発企業

#### 事業内容

- (1) 希少疾病用医薬品等への試験研究助成金の交付
- (2) 助成金交付に係る指導・助言
- (3) 税額控除に係る特別試験研究費の認定
- (4) 製造販売承認後、売上高に応じた納付金の徴収

- 我が国における治験・臨床研究の環境整備を図るため、
  - ・ 人材確保や試験施設をはじめとする国際共同治験・臨床試験のための体制強化
  - ・ Single IRB化の推進を含めた手続の効率化
  - ・ 臨床研究中核病院を中心とした関係機関の連携促進
  - ・ 治験・臨床試験に参加する立場の国民や患者の理解促進等の取組を進めているところ。

## I 国際競争力のある治験・臨床試験体制の強化

- ・ 国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成
- ・ ドラッグ・ロスへの対応
- ・ 国際共同治験のためのワンストップ相談窓口の設置
- ・ ヒト初回投与試験の体制整備

## II 症例集積力の向上

- ・ レジストリ・リアルワールドデータの利活用の促進
- ・ クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想の進展
- ・ 分散型治験を実施可能な体制の整備と効率的な適用・運用方法の模索
- ・ 臨床研究中核病院以外の施設の治験・臨床試験レベルの向上
- ・ 臨床研究中核病院・NC・JIHS・NHO等間での連携強化
- ・ 治験・臨床試験DXの推進

## III 治験・臨床試験手続きの効率化

- ・ AI関連技術を用いた症例分析など利活用の促進
- ・ 一括審査を進めるためのSingle IRB化の推進
- ・ ICH-E6 GCPの改定を踏まえた治験手続き等の運用の見直し
- ・ 電子カルテ情報を含む治験・臨床試験に必要なデータの標準化
- ・ 説明文書・同意文書・契約書等の書類の標準化

## IV 治験コストの透明化の向上

- ・ Fair Market Valueに基づく費用算定の導入推進
- ・ モデル事業等を通じたタスクベース型の費用算定方法の検討

## V 研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ

- ・ 臨床研究総合促進事業等を通じた人材育成
- ・ 研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築、インセンティブ付与に向けた検討

## VI 治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進

- ・ 治験・臨床試験の重要性に関する理解促進
- ・ 治験・臨床試験におけるPPIの啓発・推進
- ・ jRCTをユーザーフレンドリーなデータベースにするための大規模改修
- ・ jRCTにスマートフォンでアクセスしやすくする等、患者が扱いやすい情報提供の普及
- ・ 治験・臨床試験の実施に関する情報公開

## VII その他

- ・ 2019年のとりまとめ後の社会情勢を踏まえた方策
- ・ 生成AI等の新たな技術や手法による、医療環境や海外での治験・臨床試験の変化への備え
- ・ 認定臨床研究審査委員会及び治験審査委員会の質の確保
- ・ 特定臨床研究における保険外併用療養費制度の周知
- ・ 治験・臨床試験以外の臨床研究等について本とりまとめを踏まえた種々の取組

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組（3）治験・臨床研究の推進

## 【参考資料】主な取組

令和8年3月16日（月）  
第3回創薬・先端医療WG資料

医政局研究開発政策課  
（内線4165）

施策名：国際共同治験ワンストップ相談窓口事業

### ① 施策の目的

日本国内に開発拠点を有さない海外の製薬企業やベンチャー企業を対象に、日本市場に関する情報発信、開発の誘致を行う機能や、治験実施に関する相談・調整を英語のまま行う機能を持つ「ワンストップ相談窓口」を設置し、将来のドラッグ・ラグ／ロスの発生の防止につなげる。

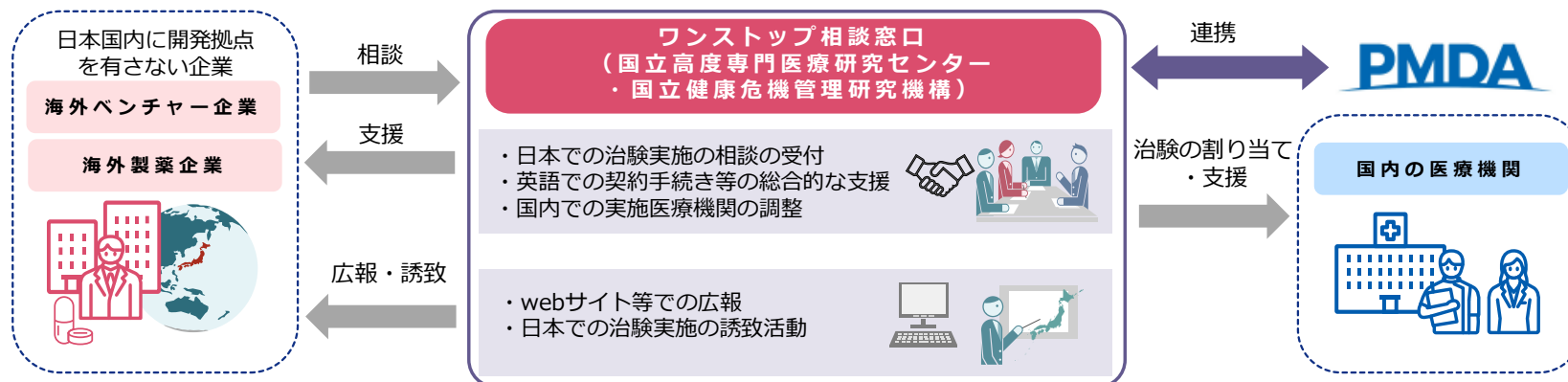
### ② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

### ③ 施策の概要

ワンストップ相談窓口において、海外のベンチャー企業等から、国内での治験・臨床試験の実施について相談を受け、国内での治験実施を調整するとともに、国内での治験の実施を誘致する。窓口設置準備を進める中で、海外ベンチャー企業等の関心度合いが高かったことを踏まえ、窓口設置の加速化及び海外ベンチャー企業等が日本国内での国際共同治験を確実に実施できる体制を構築する。

### ④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



- ◆ 実施主体：国立がん研究センター ◆ 補助率：10/10
- ◆ 対象経費：人件費、旅費等

### ⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

令和10年度におけるワンストップ相談窓口への国際共同治験の相談件数を年間15件とする。

### 医療技術実用化総合促進事業

#### 1 事業の目的

- 医療法に位置づけられている臨床研究中核病院において、その臨床研究基盤及びネットワーク機能を活用した臨床研究中核病院間の連携、各臨床研究中核病院の特色を生かした機能強化を推進するとともに、臨床研究・治験実施に係るノウハウを臨床研究中核病院外に共有・展開することで、日本全体の臨床研究基盤を強化し、日本発の革新的医療シーズ等をいち早く実用化に繋げ国民へ還元する取組みを推進していくことを目的とする。

#### 2 事業の概要・スキーム

##### （1）国際共同臨床研究実施推進プログラム

海外対応可能な人材の育成・配置や、国際共同試験を実施する者に対する支援を行うとともに、国際共同試験の推進に資するノウハウの共有を行う。国際共同試験を担う人材育成を目的とした欧米等の先端的な臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣等を継続する。また、国内に拠点のない海外スタートアップ等向けの治験の相談・支援を行うワンストップ窓口と連携し、ネットワークを活用した施設の紹介・ニーズに応じた症例割り振り・実施の調整等、国内での治験実施の支援を行い、ドラッグ・ロスの解消に貢献する。

##### （2）先進的臨床研究実施推進プログラム

リアルワールドデータの活用を促すため、診療情報の標準化及び品質管理の体制整備を進める。また、FMV (Fair market value)に基づくタスクベース型の治験費用算定や、RBA (Risk based approach)、QbD (Quality by Design) に加え、ICH-E6(R3)において具体化されるCTQ要因 (Critical to Quality Factors) の概念を実装した臨床試験の品質管理について、臨床研究中核病院において試行的な導入を行い、導入に当たって課題等のノウハウを集積し、臨床研究中核病院外に共有・展開することで、国内での普及推進につなげる。

##### （3）医療系ベンチャー育成支援プログラム

医療系ベンチャー向けの窓口及び産学連携の中心となるような人材の配備等を行い、ベンチャー企業の開発を促進するとともに、各拠点で得られた知見の共有を行う。



#### 3 実施主体等

◆補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）

◆補助率：定額

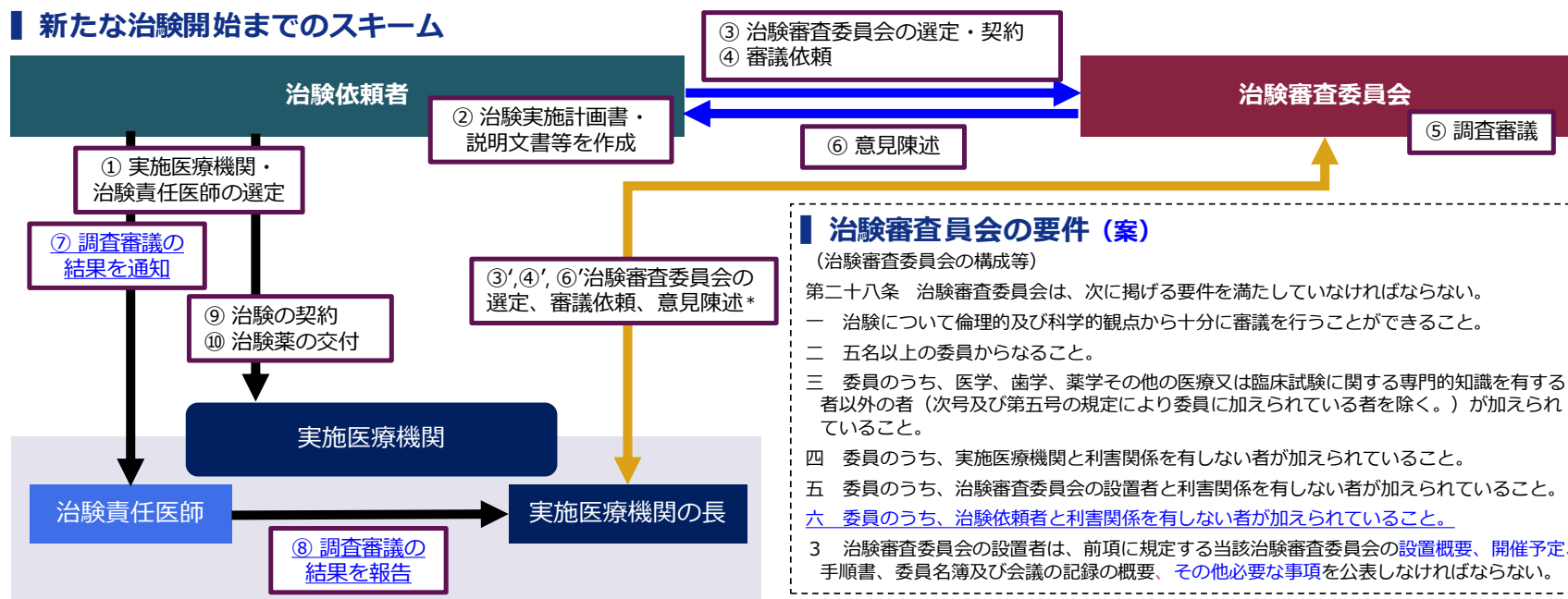
### 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（GCP省令）の見直し

#### 【シングルIRBの原則化】

現在、治験実施医療機関ごとに設けられている治験審査委員会（IRB）について、治験依頼者が直接IRBに審議を依頼できるようにし、**多施設共同試験におけるシングルIRBの原則化を推進する。**

- 現行のGCP省令では、実施医療機関の長により、治験を行うことの適否その他の治験に関する調査審議をIRBに行わせることが規定され、外部IRBを利用するために、実施医療機関の長と外部IRBとの契約が必要となっている。
- 治験の効率化を進める観点から、多施設共同試験においてシングルIRBの利用促進が求められているが、**複数の実施医療機関との間で、調査審議を行わせるIRBについて調整する主体が存在せず、シングルIRBの利用が進んでいない。**
- ICH-E6（R3）においてIRB審議依頼を治験依頼者が行う場合があることが明確化されたことや、欧米におけるシングルIRBの推進化等を踏まえ、**治験関係文書の作成主体を治験依頼者に変更し、調査審議を行わせるIRBについて治験依頼者が調整を行い、治験依頼者がIRB審議を直接依頼することも可能とする\***。

#### 新たな治験開始までのスキーム



\* 現行の実施医療機関の長によるIRB審議依頼等（←→）については、実施医療機関と治験依頼者との協議のうえで引き続き可能。

## 7. 治験エコシステム導入推進事業

医薬局医薬品審査管理課  
(内線2746)

令和8年度当初予算案 10百万円（16百万円）※（）内は前年度当初予算額

### 1 事業の目的

- 近年、ドラッグ・ロスの要因の一つとして、国際共同治験において、日本人症例の組入れが遅い等の理由により、日本を避ける傾向が指摘されている。
- 本事業では、**国内で治験を実施しやすい環境作りのため、国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消（治験エコシステム導入）**のため以下に取り組む。

#### ① GCP Renovationの実態調査

令和7年度に被験者の保護やデータの信頼性確保を前提とし、臨床試験のデザインやデータソースの多様化に対応し、適切かつ柔軟性のあるGCP（臨床試験の実施基準、新ICH-GCP）への刷新を予定。これに伴い、治験にかかる手続きの簡素化・合理化（単一IRBでの審査の普及等）に関する医療機関の運用実態について、PMDAによる継続的なモニタリングを行うとともに、海外の状況との比較を行う。

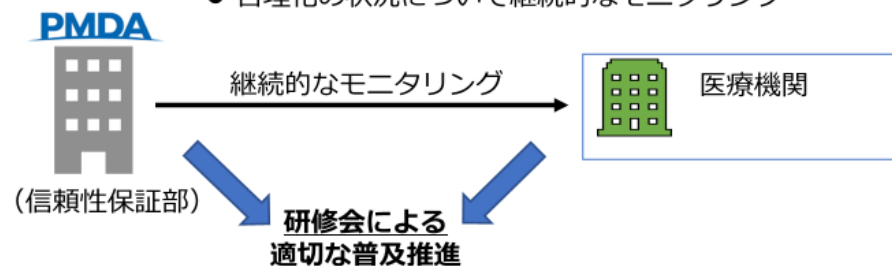
#### ② 医療機関等向けの研修会（セミナー）開催

医療機関等に対して、継続的なモニタリングにおいて把握した新ICH-GCPの実装において生じている課題やその解決方法について研修会において周知することで、GCP Renovationの適切な普及を図る。

### 2 事業の概要・スキーム

新ICH-GCP導入に関する**医療機関の実態調査**

- 治験にかかる手続きの簡素化の状況
- 治験の目的に応じた合理化（ガイドライン等）の運用状況
- 合理化の状況について継続的なモニタリング



### 3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・ 人件費：補助率50/100
- ・ 旅費
- ・ 医療機関への実態調査等
- ・ 研修会開催費等

拡充

### 創薬力強化のための早期薬事相談・支援事業

医薬局医薬品審査管理課  
(内線2746)

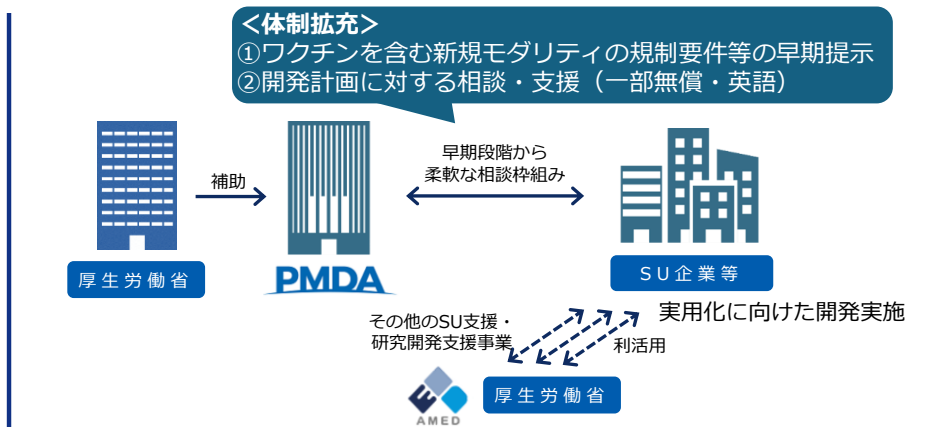
令和8年度当初予算案 63百万円（56百万円）※()内は前年度当初予算額

#### 1 事業の目的

- 将来のドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスを防ぎ、治療薬の開発を待ち望む患者・家族の期待に応えるため、**我が国の創薬力の強化が喫緊の課題**。
- 特に、国内発の新規モダリティ等の革新的シーズの実用化を推進するためには、有効性・安全性評価等の薬事の視点が重要であることから、PMDAが、各種規制要件や留意事項を早期の段階で示すとともに、アカデミア、スタートアップ（SU）等に対し開発の早期段階から相談・支援のパートナーとして伴走することが求められる（※）。
- このため、**国内発の革新的シーズの研究開発に対し、積極的に相談・支援を行うためのPMDAの体制を拡充し、国が支援対象とするシーズに関して ①新規モダリティの規制要件等の早期提示、②個別SU等の開発計画への相談・支援を強化**。  
その他、**PMDAの相談手数料を無償化**するとともに、**英語での相談・資料提出にも柔軟に対応**する。

(※) 「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」中間取りまとめ

#### 2 事業の概要・スキーム



#### 3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・体制拡充に係る人件費：補助率50/100
- ・相談手数料の補助（相談の無償化）
- ・通訳費、翻訳費（英語相談に対応）

拡  
充

### 医薬品国内開発伴走事業

医薬局医薬品審査管理課  
(内線2746、4224)

令和8年度当初予算案 1.1億円 (1.0億円) ※ ()内は前年度当初予算額

#### 1 事業の目的

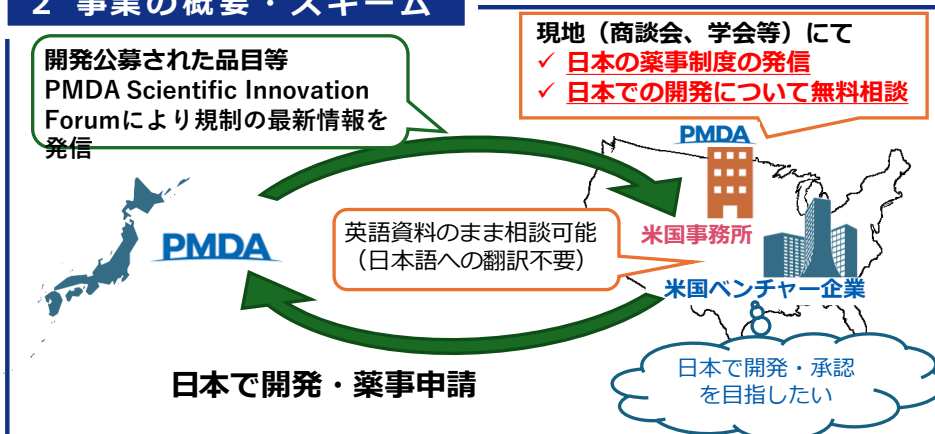
- 近年、欧米では承認されている医薬品が日本で開発が行われない、いわゆる「ドラッグ・ロス」の拡大が指摘されている。この背景には、日本の創薬力や市場性の低下のほか、革新的新薬のシーズを海外ベンチャーに依存するビジネスモデルへの転換等の創薬環境の構造変化がある。
- このため、国内での中小企業の支援に留まらず、海外の中小バイオ企業による日本での開発・薬事申請を促すため、2024年11月に設置した**PMDA 米国事務所**を相談・支援の窓口となる拠点とし、PMDAと厚生労働省が連携して**米国等において、英語で、日本の薬事制度の情報発信、薬事の相談対応を無料**で行う。（あわせて国際共同治験等で米国FDAとも連携）
- また、**PMDAの最新の取組の英語による対外発信のためPMDA Scientific Innovation Forumを開催**。
- 特に、「未承認薬・適応外薬検討会議」で開発公募された品目を重点的に対象とし、日本での治験実施を含めた薬事相談に応じる。

#### 日本国内未着手の86品目内訳（2023年3月）

ベンチャー発	オーファン	小児
<b>56</b> % (48品目)	<b>47</b> % (40品目)	<b>37</b> % (32品目)

※86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

#### 2 事業の概要・スキーム



#### 3 実施主体等

実施主体：PMDA・厚労省

費用内訳：

- ・職員旅費  
(運営費交付金)
- ・人件費（伴走支援・広報）：補助率100/100
- ・旅費・滞在費（米国、欧州）
- ・翻訳・通訳費、相談ブース借料、広報費等  
(補助金)
- ・PMDA米国事務所経費（家賃、人件費（現地採用職員）等）：補助率50/100

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組 主な取組（４） 薬価上の措置

- 創薬イノベーション推進の観点から、
  - ・ 令和6年度及び令和8年度薬価制度改革において、革新的新薬について、特許期間中の薬価を原則として維持することに加え、製品の特性に応じた有用性の評価の充実を行っている。
  - ・ 例えば、希少疾病用医薬品については、原則、新規収載時に補正加算の対象となることに加え、特許期間中の薬価を維持している。

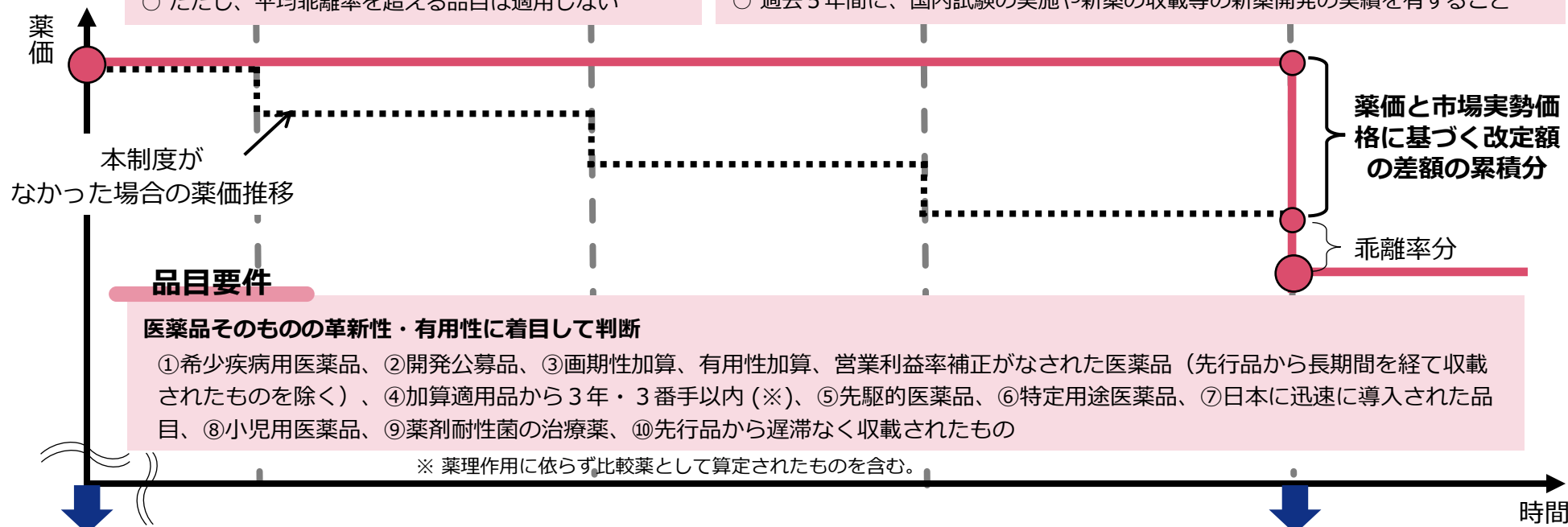
## 【革新的新薬薬価維持制度の概要】

### 適用

- 改定前薬価を維持
- ただし、平均乖離率を超える品目は適用しない

### 企業要件

- 厚生労働省の開発要請に適切に対応すること
- 過去5年間に、国内試験の実施や新薬の収載等の新薬開発の実績を有すること



### 品目要件

医薬品そのものの革新性・有用性に着目して判断

- ① 希少疾病用医薬品、② 開発公募品、③ 画期性加算、有用性加算、営業利益率補正がなされた医薬品（先行品から長期間を経て収載されたものを除く）、④ 加算適用品から3年・3番手以内（※）、⑤ 先駆的医薬品、⑥ 特定用途医薬品、⑦ 日本に迅速に導入された品目、⑧ 小児用医薬品、⑨ 薬剤耐性菌の治療薬、⑩ 先行品から遅滞なく収載されたもの

※ 薬理作用に依らず比較薬として算定されたものを含む。

薬価収載

※ 取組については参考資料（P24～P25）を参照。

後発品上市又は収載15年後

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組（４）薬価上の措置

## 【参考資料】主な取組

令和8年薬価制度改革

### 新薬収載時の補正加算

#### 画期性加算（70～120％）

次の要件を**全て満たす**新規収載品

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること。
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、**高い有効性又は安全性**を有することが、客観的に示されていること
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の**治療方法の改善**が客観的に示されていること

#### 有用性加算（Ⅰ）（35～60％）

画期性加算の**3要件のうち2つの要件を満たす**新規収載品

#### 有用性加算（Ⅱ）（5～30％）

次の**いずれかの要件を満たす**新規収載品 ※イ～ハは画期性加算の要件と同じ

- イ 臨床上有用な新規の作用機序を有すること
- ロ 類似薬又は既存治療に比して、高い有効性又は安全性を有することが、客観的に示されていること
- ハ 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病又は負傷の治療方法の改善が客観的に示されていること
- ニ **製剤における工夫**により、類似薬又は既存治療に比して、高い医療上の**有用性**を有することが、客観的に示されていること

満たした要件の数によって判断

※ 複数の補正加算に該当する場合には、それぞれの加算率の和を算定に用いる。（再生医療等製品については、市場規模等により加算の割合を補正）

#### 市場性加算（Ⅰ）（10～20％）

**希少疾病用医薬品**であって、対象となる疾病等に係る**効能効果が、主たる効能効果であるもの**

※ 希少疾病用医薬品の指定基準への該当性の内容に応じて、加算率は例外的に5%を下限

#### 小児加算（5～20％）

主たる**効能効果**又は当該効能効果に係る**用法用量**に、**小児に係るものが明示的に含まれているもの**

#### 市場性加算（Ⅱ）（5％）

主たる効能効果が、**市場規模が小さいもの**として別に定める薬効に該当するもの

#### 特定用途加算（5～20％）

**特定用途医薬品**として指定されたもの

#### 先駆加算（10～20％）

**先駆的医薬品**として指定されたもの（旧制度での指定品目を含む）  
**<世界に先駆けて日本で開発されたもの>**

#### 迅速導入加算（5～10％）

上記に準じて、**日本へ迅速に導入されたもの**（以下の要件を満たすもの）

- ・ 国際的な開発が進行しているもの（国際共同治験の実施等）
- ・ 優先審査品目
- ・ 申請・承認が欧米より早い又は欧米で最も早い申請・承認から6か月以内の品目

\* 希少疾病用医薬品の指定範囲が小児のみを対象とする場合は併算定不可

併算定可\*

併算定不可

併算定不可

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組（４）薬価上の措置

## 【参考資料】主な取組

### 令和８年度薬価制度改革の内容

- 薬価専門部会における薬価算定基準の見直しに関する議論のほか、「経済財政運営と改革の基本方針2025」（令和7年6月13日閣議決定）を踏まえた令和8年度薬価制度改革の内容は以下のとおり。

#### 1. 国民負担の軽減と創薬イノベーションを両立する薬価上の適切な評価

##### (1) 薬価算定方法

- 補正加算率を控除した比較薬の薬価で一日薬価合わせを行い、比較薬に補正加算が適用されている場合であっても、新薬の補正加算を適用可能とするよう見直し
- 革新的新薬の評価方法、原価計算方式における開示度の取り扱いについては、引き続き検討 等

##### (2) 新薬の薬価収載時・薬価改定時における評価

- 成人及び小児の同時開発促進の観点から、市場性加算（I）と小児加算の併加算を可能とするよう見直し
- 国内の診療ガイドラインにおいて標準的治療法になったと評価できる場合の薬価改定時の加算を新設 等

##### (3) 新薬創出・適応外薬解消等促進加算

- 新薬創出・適応外薬解消等促進加算の名称を「革新的新薬薬価維持制度」に変更
- 制度の透明性を高める観点から、対象品目の要件を見直し 等

##### (4) 市場拡大再算定

- 類似品への市場拡大再算定（いわゆる共連れ）を廃止
- 希少疾病、小児の効能等追加のみの場合、再算定の対象とはしない運用を明確化
- 市場拡大再算定の特例の名称を「持続可能性特例価格調整」に変更 等

##### (5) イノベーションの推進に向けた長期収載品の薬価の更なる適正化

- 長期収載品に依存するビジネスモデルからの脱却推進の観点から、後発品上市後5年を経過した長期収載品（バイオ先行品を含む）について、後発品置換率によらず段階的に薬価を引き下げ 等

##### (6) オーソライズド・ジェネリック（AG）・バイオAGの取扱い

- AG、バイオAGの収載時薬価は先発品薬価と同額に算定
- 先発品薬価と同額に算定されたAG、バイオAGについては、薬価改定時に先発品と価格帯を集約

#### 2. 後発品を中心とした医薬品の安定供給の確保のための対応

##### (1) 後発品の価格帯集約

- 注射薬、バイオシミラー、安定供給に係る企業指標の上位評価企業の品目について、価格帯集約を廃止 等

##### (2) 薬価の下支え制度の充実

- 外用塗布剤の最低薬価を設定、最低薬価を引き上げ
- 全ての類似薬が不採算でなくても、不採算の類似薬の合計シェアが5割以上であれば不採算品再算定を適用 等

#### 3. その他の課題

##### (1) 高額な医薬品に対する対応

- 市場規模年間1,500億円超の品目に対するこれまでの対応に関する規定を追加
- 薬価調査における販売額が大きく、保険診療外での使用が一定数見込まれる品目については、NDBで販売額を把握し、持続可能性特例価格調整を適用 等

##### (2) 医薬品流通に関する課題

- 調整幅の在り方については、引き続き検討

##### (3) 販売包装単位の適正化

- 関係団体における対応状況を注視し、薬価上の対応の必要性を検討

##### (4) イノベーションの適切な評価

- 米国の最恵国待遇（MFN）価格政策に関し、ドラッグ・ロスの解消の観点から、機動的な対応ができるよう、引き続き検討

#### 4. 診療報酬改定がない年の薬価改定

- 「大臣折衝事項」（令和7年12月24日厚生労働省）に基づき、令和9年度薬価改定を着実に実施
- 対象品目の範囲や適用される各種ルールの在り方については、創薬イノベーションの推進、医薬品の安定供給の確保、現役世代の保険料負担を含む国民負担の軽減といった要請にバランス良く対応するとの基本的な考え方を踏まえて検討

# ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組 今後の取組の方向性

## 今後の取組の方向性

- 未承認薬・適応外薬に関する要望も踏まえつつ、真に対応すべきドラッグロスについては、その要因の解消に向け、治験・臨床研究を着実に実施できる研究開発基盤の強化を総合的に進める。
- 小児や希少疾患、平時は国内において発生が想定されない感染症といった症例に限られる領域では、症例集積性の向上支援、専門性を有する医療機関の連携強化、国際共同治験の呼び込みなど、研究開発を後押しする体制を一層整備することにより、国内での研究開発を推進する。
- 併せて、医療機関・研究者の負担や体制面の課題に対応するため、治験実施手続の効率化、人材確保・育成、国際対応力の向上等を通じて、治験が実施しやすい環境を整備する。
- さらに、PMDAにおける相談体制の強化や開発計画等に対する伴走支援の実施など、薬事の面においても日本での開発・上市を後押しするための取組を進める。

今後の取組の柱

生じた

### ・医療上の必要性に基づく国内未承認薬の開発促進

- 国が情報の整理を行い、未承認薬・適応外薬検討会議において、医療上の必要性を判断し、企業に対して開発要請又は開発公募

ドラッグ  
ラグ・ロス

### ・小児や希少疾患領域の重点強化

- 産官学患が参画する小児医薬品開発推進コンソーシアムの事務局機能を拡充し、開発環境整備と小児治験の人材育成を強化
- ベンチャーが開発する医薬品等に関する国際共同治験の呼び込み
- 疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

生じうる

### ・治験実施体制に対する総合的な対応（第3回創薬・先端医療WGにおいて発表済み）

- 国内試験体制、治験の国際化や効率化、人材の確保・育成等を支援

### ・薬事相談体制の強化等（第1回創薬・先端医療WGにおいて発表済み）

- PMDAにおける相談体制の強化を支援