

第5回創薬・先端医療ワーキンググループ 議事録

■日時：令和8年4月6日(月) 17時00分～18時00分

■場所：中央合同庁舎第4号館 1214会議室（ハイブリット開催）

■出席者：

共同座長

松本 尚 デジタル大臣

構成員

（有識者）

五十嵐 啓朗 ファイザー株式会社代表取締役社長

熊ノ郷 淳 国立大学法人大阪大学総長

志鷹 義嗣 株式会社 RealizeEdge Partners 代表取締役社長

平野 未来 株式会社シナモン代表取締役社長CEO

藤本 利夫 アイパークインスティテュート株式会社代表取締役社長

本田 麻由美 読売新聞東京本社編集局編集委員

牧 兼充 早稲田大学大学院経営管理研究科准教授

宮柱 明日香 武田薬品工業株式会社ジャパンファーマビジネスユニットプレジデント

山本 武 元富士フイルム株式会社執行役員ライフサイエンス戦略本部副本部長

バイオサイエンス&エンジニアリング研究所長

吉川 真由 ARCH Venture Partners ベンチャーパートナー

（政府関係者）

仁木 博文 厚生労働副大臣

小林 茂樹 文部科学副大臣

代理出席

井上 博雄 経済産業省 商務・サービス審議官

オブザーバー

藤原 康弘 独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長

中釜 斉 国立研究開発法人日本医療研究開発機構理事長

参考人

桑原 宏哉 東京科学大学脳神経病態学分野（脳神経内科）／核酸・ペプチド創薬治療研究センター准教授

事務局

内山 博之 内閣府健康・医療戦略推進事務局長

■議事：

1. 開会
2. 議事

- (1) 構成員・参考人からのヒアリング
- (2) 官民投資ロードマップについて【非公開】
- (3) その他

3. 閉会

○内山健康・医療戦略推進事務局長 定刻となりましたので、ただいまより第5回「創薬・先端医療ワーキンググループ」を開会いたします。

事務局として議事進行を務めます内閣府健康・医療戦略推進事務局長の内山です。

本ワーキンググループは本日で5回目となりまして、度々の御参集、改めて感謝申し上げます。本日もどうぞよろしくお願ひいたします。

本会議は、オンライン併用での開催となっております。

議事(1)については、ユーチューブによるライブ配信により公開、議事(2)は非公開で行う予定ですので、よろしくお願ひ申し上げます。

メディアの方の撮影はここまでとさせていただきます。よろしくお願ひいたします。

また、本日、共同座長の小野田科学技術政策担当大臣は公務のため御欠席です。

初めに、同じく共同座長の松本デジタル大臣より御挨拶をいただきます。

○松本デジタル大臣 皆さん、こんにちは。共同座長の松本でございます。

本日は、お忙しいところ、皆様、お集まりいただきまして、誠にありがとうございます。

本日は、健康医療安全保障の構築に向けて重要な、ドラッグロス解消に向けた取組状況を把握しつつ、日本の創薬を俯瞰できるよう、皆さんからの御意見を聴取したいと思ひます。

それから、官民投資ロードマップの具体像についても、ぜひ活発な議論をできればいいなと思っております。

何とぞよろしくお願ひいたします。ありがとうございます。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございます。

それでは、早速議事に入ります。

まず、議事(1)では構成員・参考人によるヒアリングを行います。

まずは我が国におけるドラッグラグ・ドラッグロス問題の現状について、厚生労働省より御紹介いただきます。

それでは、仁木厚生労働副大臣より御説明をお願ひいたします。

○仁木厚生労働副大臣 厚生労働副大臣の仁木博文でございます。

厚生労働省におけるドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組について御説明したいと存じますので、まず厚労省の参考資料の2ページを御覧になってください。

我が国では、未承認薬・適応外薬の対応や、企業への能動的な開発要請等を行う枠組みの整備を進めてきたものの、依然としてドラッグラグ・ドラッグロスが生じている状況です。

特に小児・希少疾患領域等では、症例集積の制約から、迅速に治験を進めるための国内基盤が十分とは言えない状況でございます。

また、国際共同治験に参画しにくい状況が続いており、治験件数の伸び悩みや医療機関の体制、事務負担といった環境面の課題も国内開発の遅れにつながっております。

こうした課題は、必要な医薬品が患者に届くまでの時間を長引かせる要因となっており、研究開発基盤の強化は引き続き重要な政策課題となっております。

続いて、3ページを御覧ください。

今申し上げた課題認識の下、様々な取組を進めているところです。例えば国内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または開発の公募を行う枠組みを構築し、対策を進めているところでございます。

続いて、8ページを御覧ください。

小児・希少疾患等に対する研究開発の推進に向け、日本医療研究開発機構や医療基盤・健康・栄養研究所による支援、また希少疾病用医薬品の優先審査、PMDAにおける薬事相談体制の整備などの取組を進めています。

また、イノベーションに寄与する一方で、事業性が極めて乏しいため、研究開発の機会を逃すおそれのある医療に関する研究開発についても個別に支援を行うことを検討しております。

続いて、16ページを御覧ください。

治験・臨床研究の環境の総合的な整備のため、国際共同治験・臨床試験のための体制強化、治験のDX化やAI関連技術を用いた治験・臨床試験手続の効率化、研究従事者や研究支援人材の育成などの取組を進めています。

続いて、23ページを御覧ください。

薬価上の措置として、革新的新薬の創出、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消を促進するため、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ます。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て、特許期間中の薬価を維持しています。

続いて、26ページを御覧ください。

冒頭で述べた課題・現状を踏まえまして、今後の取組は2点でございます。

第1に、現在生じているドラッグラグ・ドラッグロスへの対応として、学会・企業と連携し、医療上の必要性に基づく国内未承認薬の開発促進を進めてまいります。

第2に、今後生じるドラッグラグ・ドラッグロスへの対応として、治験の実施体制の総合的な対応、薬事相談体制の強化等を進めてまいります。特に国内の研究開発基盤に課題がある小児・希少疾患領域の医薬品開発については、支援の必要性の高い品目を調査した上で個別に支援するなど、きめ細やかな対応を検討しております。あわせて、革新的新薬のイノベーションのさらなる評価について、引き続き検討を行ってまいります。

厚生労働省としましては、本ワーキンググループの議論を踏まえながら、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けた取組を進めてまいります。

以上です。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございます。

続きまして、参考人からの御説明に移りたいと思います。

ただいま仁木厚生労働副大臣からの御説明の中にも、小児・希少疾患領域の重点強化というお話がございましたけれども、まず初めに桑原参考人より、希少疾患、個別医療、個別創薬というようなテーマで発表をお願いいたします。

○桑原参考人 御紹介ありがとうございます。

東京科学大学の桑原宏哉と申します。本日はどうもありがとうございます。

私は、脳神経内科の難病を多く診ている医師として、また核酸医薬を長年研究している者として、そして厚労省の医系技官経験者でもございまして、制度面を含めました課題の検討に取り組みさせていただいております。

希少難病に対する創薬の課題という点と、それに対する個別化という新しい創薬の取組の紹介をしたいと思います。

資料2-1の2ページ目でございます。

希少疾患、日本におきましては患者数が5万人までと定義されております。超希少疾患は、定義はないと思いますが2,000人ぐらいまでと想定されていて、これらに対する医薬品が様々に開発されて、承認されているわけでございます。

ただ、製薬企業が開発するラインに限界がありまして、赤線のところでございますが、日本での患者数が100人ぐらいと言われております。このくらいの患者数がないと採算性が取れないということで、それより少ない病気に対する医薬品は開発できないという現状がございます。それを我々は極希少疾患と呼んでおりまして、数十人くらいまでの遺伝原因による難病が多いのですけれども、これらに関しては創薬ができていないという現状での課題がございます。

今、希少疾患に対する医薬品として核酸医薬品が多く承認されるようになっております。次のページでございます。こちらの表に24種類の商品が書いてございます。真ん中の辺りに承認国とありますけれども、この24種類のうち日本では9種類が承認されております。ここにもドラッグラグ・ドラッグロスがあるわけでございますけれども、承認名を御覧になっていただくと分かりますとおり、ここ10年で承認された薬が圧倒的に多いということで、今まで治療できていなかったものが核酸医薬で治療できる時代になっているということで、希少難病に対する今後のトレンドとなるということが広く想定されているところでございます。

次のページに移ります。

核酸医薬がなぜ良いかというところは、任意の分子、特に遺伝子などを標的とした薬とできますので、病気の根本に作用させられるということになります。そういう意味では、

遺伝子治療や遺伝子編集といった技術も出ておりますが、核酸医薬は比較的簡単に作れたり、体内で比較的届けやすかったりということで、創薬が盛んになっているところでございます。

ただ、患者さんがきわめて少ない場合は、一人の場合はN-of-1、ごく少人数の場合はもう少し多いということでN-of-1+と言っていますが、核酸医薬を患者個別に作って投与して、その患者自身で安全性や有効性を評価するというような創薬が主に米国で推進されております。製薬企業が主導できないというところで、従来の創薬とは異なる新たな創薬パラダイムということが言えます。

これを米国で最初に始めたのはボストンのアカデミアの先生方なのですが、今、圧倒的に主導しているのは米国のn-Lorem財団という非営利の財団でございます。アンチセンス核酸という核酸医薬の一番主流のタイプの医薬品になりますが、その世界のリーディングカンパニー、Ionis社の設立者で前CEOの方が財団をつくって、ビジネスとは別に、個々の患者さんのためにカスタムメイドで生涯無償で提供するという大きな理念を掲げて、ほぼ慈善活動という形で展開しているところでございます。

米国では寄附がいろいろと入ってくる文化がありまして、お金がうまく回っているようでございます。今のところ米国で50名ぐらいの方が個別化の核酸医薬による治療を受けており、ほとんど有害事象は出ていなくて、顕著な有効例、だんだん歩けなくなった人がまた歩けるようになったりといった、かなり驚くような効果が出ている事例がございます。

その次のページ、米国n-Lorem財団が開発中の五、六十種類の薬が書いてございます。私が専門にしている脳神経系の病気が多いのですが、こういう病気の治療に適用しやすいということで、また非常に有効な例が出ているということで、盛んに開発がされているわけです。

こういったものが製薬企業主導でない形での創薬ということで、今、世界で急速に進んでおります。次のページに個別の核酸医薬に係る世界の動向を示します。左のFDAのガイダンス、これは今年2月下旬にまだ出たばかりでございます。核酸医薬だけではなくて、遺伝子治療や遺伝子編集なども含めた個別化治療ということのスコープとした場合の考え方です。一時的な救済ではなくて、ちゃんと薬を承認して、制度として位置づけて、続けていこうという動きであり、ガイダンスの4つの骨子をここに示しております。

それ以外にも右側にあるN=1 Collaborativeや1 mutation 1 medicine、1M1Mと言いますが、国際的・学際的なネットワークが構成されております。世界の主要な創薬国ではこのような議論が進んで実装されつつあるという一方で、まだ日本ではN-of-1創薬が実現できていないという現状がございます。

最後、まとめのスライドでございます。従来の創薬と個別化創薬の比較です。

従来の創薬は10年～20年、長い年月をかけて開発・承認され、1つの薬ができるまで3000億円というような膨大なお金がかかります。ただ、個別化創薬ですと、かなり予後の悪い病気などに絞って安全性の検証の一部をスキップすることなどにより2年ぐらいで開発で

きて、個々の薬は2億円程度までで、多種類実践することができるのではないかというコンセプトです。これは国連サミットのSDGsの目標3にも合致しますし、WHOのUniversal Health Coverageにもマッチするということで、誰一人として取り残さない、そこに届く創薬になるということになります。

現在、我々の目の前には実際にこういう治療の対象となる患者さんが何人かおまして、日本で1例目の治療の準備を進めています。年内もしくは今年度内に多分始められると思っていますが、スタートできたとしても、治療を持続できるシステムがないということが問題となっております。こういう社会システムが今、日本にはないということが重要な課題ということで、私のお話とさせていただきます。

どうもありがとうございました。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございました。

続きまして、本田構成員より御説明をよろしく願いいたします。

○本田構成員 ありがとうございます。読売新聞の本田でございます。

このようところで発言の機会をいただき、ありがとうございます。

本日は、2ページ目にありますように、私自身のがんの闘病経験を踏まえた患者目線というところと、自身の職業である記者としての取材経験による視点というところで、2点意見を述べさせていただきたいと思っております。

3ページ目を御覧ください。

意見の羅列で大変恐縮なのですが、まずは、官民連携で成長投資・危機管理投資の促進をすべき17戦略というところに創薬・先端医療が選ばれたことは、大病を経験した者としては大変感謝をしております。

そして、医薬品産業を成長産業・基幹産業として位置づけて、政府が一体となって取組を進めるということを示されたことにも本当に期待が大きく、関心が高まっていると思います。

このような方針が示されて、創薬が加速し、国内製造が進み、輸出できる国となること、それを目標とすることはすばらしいことだと思っておりますし、きっちり進めていただきたいと思います。

それと同時に、そういう議論はこれまでずっと皆さんの議論があったので大変心強く思っているのですが、産業として成長すると同時に、国民にとって一番重要なことは、国民に確実に適切なお薬が届くこと、そういうところが一番重要なことではないかと考えております。真の成長というものとは何かということを考えたときに、グローバル市場での成長はもちろん大事ですし、進めていただきたいと思いますけれども、同時に国内の医薬品及びヘルスケア市場の拡大ということも必要になってくると思います。それが患者・国民に届けるためには必要なことだと思っております。日本の患者・国民が時代に応じた革新的な医薬品や医療機器へのアクセスが確保されるためにも、そういうことを考えていかなければいけないと感じております。

また、日本発の創薬が重要であることはもちろんなのですが、今日の先ほどの厚生労働省の資料にもありましたように、ドラッグラグ・ロスの解消ということは大変関心が高く、重要な問題として注目されております。日本で創薬が全てできればいいのですが、全ての薬を国内で開発できるというわけではないので、海外で開発された医薬品を、必要・適切なもの、優れた医薬品をきちんと日本患者にも提供される体制を進めていただきたいと思います。

これらを可能にするためには、私自身の意見ですが、公的保険にも限りはあると思っていますので、大きなリスクにしっかり対応できる公的保険というものをきちんと基本としつつ、多角的な支援の仕組みというものもこれからは考えていくべきではないかと思っています。

その際によく民間保険の活用などが挙げられますけれども、それだけではなくて様々な多角的な支援、例えば小さいものかもしれませんが、海外では長期的に継続的に高額な治療が必要な患者を支援するような官民による基金などもあります。そうひた様々な取組を今後日本でも検討していく必要があるのではないかと考えています。

また、同時に、病気になったら治療すればいいということだけではなくて、これからは国民・患者も自身の健康管理に責任を持っていくというところも必要があると思っています。そのためにも、国民の意識向上に向けて、健康・医療等のデータ利活用も含めた環境整備を進めていただきたいと思います。

以上のように、患者へのアクセスが阻害されないような仕組みづくりとともに、自身の健康や疾患をきちんと管理でき、その上で自身の社会生活を送ることができる。こうした医療保障・社会保障というものはコストのように語られることが多いですが、そうではなくて、健康寿命・労働寿命の延伸につながり、ひいては社会の活力増進につながるものだと考えていくことが重要だと思いますし、そうつながるものだと私も確信しています。

2つ目に、国民にとって重要な課題という視点で、経済安全保障の観点から、有事に備えた原薬の国内製造力の強化というところも検討をお願いしたいと思います。

4ページ目からですが、これまでの構成員の皆様、専門の参考人の皆様の御発表は大変勉強になりました。医薬品及びバイオ医薬品の国内製造力強化の議論も重要なことだと感じました。

最近の国際情勢を鑑みても、原薬を国内製造することは重要な視点ですし、高市総理御自身も、抗菌薬以外の経済安全保障上の観点から支援が必要な医薬品についての問題意識を持たれているように認識しております。

その上で、5ページ目を見ていただきたいと思いますけれども、こちらは日本における有効成分、原薬のことですが、製造状況について、厚生労働省が公表している安定供給体制等を指針とした情報提供項目様式1というものがあるのですが、そこからマッピングしたものです。

国が指定した供給確保医薬品のうち、原薬製造国が1か国の外国産の成分数になります。

なお、このデータは、公表対象が後発品だけになっていたため、後発品のみの数字を表しています。

なぜ原薬の製造もしくは備蓄等を検討しなければいけないかということは、皆さんもちろん御存じのこと、当たり前のことですがけれども、2019年には抗菌薬のセファゾリンの不足が医療現場で問題となりました。また、最近では、抗生物質以外でも、局所麻酔薬のアナペインが2004年に不足し、国内でも手術の実施などに影響を与えました。今回のこういう機会に、人材の一層の活用とともに、国内での原薬製造力を高めて、この分野も海外市場へも打って出られるような政策があってもいいのではないかと考えます。

こうした状況を踏まえて、これまでも様々な施策が打たれてきてはいると思いますが、具体的に、例えば国内製造を強化する対象となる原薬を抽出して、化学メーカーなどに製造の可能性を打診するもしくは調査するというのをきっちり進めていただきたいと思います。

その上で、仮に製造が困難であるような成分については、備蓄の手配などを今後計画していただきたいと思いますし、一方で、製造が可能であるものについては、これまでもありましたとおり設備投資の支援、人材育成に向けた環境整備、また海外展開の支援といった中長期的な対策を御検討いただければと思っています。

最後に御参考としてつけたのは、一取材者として、原薬製造に必要となる学問や人材育成について取材を通してまとめたものです。

例えば原薬の製造に必要な有機化学とか晶析を学ぶ機会が減少していると専門家の先生に伺いました。これから日本も人手不足となる社会構造がありますし、こういう分野をこれまで担ってこられたベテランの方々の活躍推進、最近はり・スキリングということが重要視されていますけれども、そういう観点も含めて、人材育成ということも検討いただければと思っています。

以上です。ありがとうございました。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございました。

続きまして、牧構成員より御説明をお願いいたします。

○牧構成員 それでは、よろしくをお願いいたします。早稲田大学の牧でございます。

タイトルとしては、「スタートアップが拓く日本の創薬イノベーション」ということで、2ページ目に行ってください。

私自身は、創薬力向上会議から官民協議会、そしてこの成長戦略まで、全ての一連の会議に一貫して参加させていただいている唯一の構成員となっております。ただし、私自身は医療の専門家ではなく、イノベーションの専門家です。なので、例えば研究開発税制であったり、イノベーション、スタートアップエコシステムをどうやって活性化させていくか、その観点から一貫して提案をさせていただいております。

5つ提案がありまして、1つ目の提言1、3ページですが、スタートアップを中核とした産業構造の再編ということで、4ページへ行ってください。

創薬の主要なモダリティが、従来の低分子からより新しいモダリティに移っていると。そして、世界的に見ても、新規モダリティの増加はスタートアップによる研究開発の役割を相対的に増大させていると。

そう考えたときに、日本の創薬エコシステム自体もスタートアップと大企業の連合体に移行するような産業構造の変換なしには絶対に成長することはないだろうということで、5ページに創薬エコシステムの定義を書かせていただいておりますが、創薬エコシステムの定義が皆さん必ずばらばらなので、いつも空中戦になり全くかみ合わないで終わるといことが起きます。

スタートアップを中心にと1行目に書かせていただいておりますが、ここが大事だと思っております、油断するといつの間にかスタートアップという言葉が入らなくなっていくというのが必ずこの会議で起きるので、ぜひそれは残していただきたいなと思っております。

次のページに行ってください、これが創薬力を向上させるために考えないといけない式なのだと思います。左側が生産性、これを創薬力と置き換えていただいてもいいわけですが、開発品目数というのは何かというと、スタートアップが増えることで開発品が増えるということです。成功確率というのは、創薬エコシステムが充実すればするほど、当然スタートアップには限らずですけれども、成功確率が上がっていくと。そして最後、もちろん薬価の問題があります。

下の分母のほうは開発期間とコストなのですけれども、AIであったり、ITであったり、新しい技術をきちんと使えば、分母の部分が小さくなっていく。それで全体的に創薬力が上がっていくということなのだろうと思います。

今までの議論で、薬価に特化し過ぎることによって、ほかのところの部分はどうしても議論が薄くなってしまっている。ここが課題だと思うので、トータルに見ていきましょうということが重要だと思っております。

2つ目に大手企業のスタートアップ連携の促進ということで、8ページを御覧いただいて、日本の製薬企業がどのくらいスタートアップを買収しているかという数を表したものです。2018年をピークに、減っているとは言わないですが、横ばいなのですけれども、右側の被買収企業国籍を見ると、日本企業は3%です。つまり、全く日本の企業は買ってもらえていないという現状です。

スタートアップエコシステムが回っていくためには、日本の製薬に限らずですが、日本のスタートアップがM&Aで買ってもらえる体制にしていくことはマストであろうと思います。

次のページに行ってください、アカデミア発のスタートアップが今後も最も重要であることは変わらないと思いますが、一方で、スタートアップの母数が増えることはとても重要で、その中で、私の経験から見ていても、大企業からのカーブアウトみたいなもの、これはまだまだ可能性があるにもかかわらず十分発掘し切れていなくて、政策としても十

分サポートできていないと思います。例えばですけれども、AMEDのV-ECO補助金は、アカデミア発にははまりやすいですが、大企業のカーブアウトにははまりづらいという現状があります。しかも、カーブアウトというのは、比較的アカデミア創薬よりも後の段階からスタートできるので、エグジットまで持っていくやすい可能性もあるなど。つまり、エコシステムを回しやすいということを考えております。

3つ目、Blended Capitalの高度化という話です。

ディープテックスタートアップがこの10年間ぐらいで今までとは比較にならないほどファンディングのメカニズムが複雑になっていると思います。昔は国の補助金なり研究費があつて、そこからエンジェルがお金をつけて、VCがお金をつけて、IPをしていく、こういうモデルだったわけですね。

次のページを御覧いただいて、モデルナの資金調達を見ていただくと、今までと全く違う世界なわけです。Flagship Pioneeringからスタートして、その後に、もちろんCVCも入っていますし、DARPAが入って、フィランソロピックファンドが入って、その後また国の補助金が入ってという、こういうBlended Capitalみたいなものがどんどん重要になっていく。

13ページで、Blended Capitalの要点としては、VC投資、CVCの投資もあるのですけれども、フィランソロピックファンドをどうやって国内で増やしていくか、もしくは海外から引っ張ってくるか、あと当然大手企業のM&Aも重要ですよということを考えていかないとけない。

そして、17分野ある中で、恐らく創薬・先端医療分野は、全分野の中でもBlended Capitalが最も有効に実現できる領域なのだろうと思っています。なので、それをしっかりやっていくことが重要でしょうと。

4番目が官民協働の人材育成ということで、これは最近、契約学科制度が始まったので、経産省事業かと思いますが、創薬分野でも人材育成として、バイオインフォマティクス、創薬、開発の人材育成をどんどんやってみようという御提案です。

最後、5番目は内閣官房レベルでの継続的な検討という話です。

20ページへ行っていただいて、健康寿命延伸というのは、経済成長を牽引する17分野の中でも最も重要なポイントの一つだと思うのです。ここがうまくいくと、ほかの産業の競争力も確実に上がっていくということ、それを前提として考えて戦略を立てないといけないということが一つです。

それと、17領域いろいろなテクノロジーがありますが、創薬というのはディープテックのスタートアップの育成の知見が世界で最も蓄積されている分野だということです。なので、世界から最も学べる、それを生かせる分野だということです。

21ページで、特にこれは成長戦略なので、創薬システムの中でどの果実を日本で回収していくのか、4つ一応書いてありますが、これはもう少し戦略を考えていかないとけないなくて、私も悩んでいるところではあります。

最後に22ページで、とはいえ薬価制度の改革、これは随分この3年間の中でも薬価の議

論がされるようになってきて、必要な議論がなされるようになってきていると思っております。私はこの分野の専門家ではないので細かいことの発言は控えさせていただきますが、グローバルなマーケットメカニズムを前提とした薬価制度を国内事情だけではなくきちんと考慮することは絶対に重要ですし、最後に、必要な医薬品へのアクセスなき国民皆保険制度の維持は本末転倒なのだろうと思っております。必要な薬がどうやって必要なときに手に入るようにするか、それを重視しながら政策を立てていかないといけないと思っております。

以上で終わらせていただきます。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございます。

ただいま仁木厚生労働副大臣、桑原参考人、本田構成員、牧構成員より御発表いただきましたけれども、ただいまの御発表に対する御質問、コメント等がございましたらここでお受けしたいと思っておりますが、いかがでしょうか。

それでは、まず藤本構成員。

○藤本構成員 ありがとうございます。

希少疾患薬開発につきまして、桑原先生の先ほどの御発表に賛同いたしますとともに、アイパーク、日本希少疾患コンソーシアムを支援しております関係から一言申し添えさせていただきます。

希少疾患におけるN-of-1開発は、一人の患者さんを救うためだけの例外的な救済措置ではございません。診断から製造、評価までを迅速に回せる体制をつくるということは、核酸医薬、遺伝子治療、そしてデータ医療の国際的な競争力を育てるということでもございます。したがって、N-of-1開発を個別化創薬を社会実装するための先行モデルとして日本の成長戦略の一つに位置づけることは、日本の創薬力強化に極めて重要と考えています。

とりわけ小児の希少疾患、超希少疾患におきましては時間的猶予がなく、既存の規制が救える命のハードルになっていないかを早急に検証すべき段階にございます。

日本では、既にAMEDでIRUDなど診断基盤に加えて、個別化核酸医薬の臨床実用の研究も進んでおります。ただ、今足りないのは診断から薬剤設計、製造、薬事、評価、費用負担をつなぐ実装の制度設計でございます。

したがって、提言は3点です。

第1に、薬事相談、審査、製造、初期費用支援を束ねた国家実証枠の整備。

第2に、薬剤ごとのゼロベース審査ではなく、核酸医薬などのプラットフォームを前提にした審査。

第3に、レジストリーなどの公的データの基盤整備でございます。

そして、こうした制度設計に患者・家族をパートナーとして巻き込むことは言うまでもございません。

ここで、コンソーシアムの代表、国立精神・神経医療研究センターの青木先生から授かった言葉を御紹介いたします。

日本は、診断はできるが治療につながらない国にとどまるのか、次世代医療の実装モデ

ルを世界に先駆けて示す国に転じるのかを分ける分水嶺です。最後に、N-of-1開発は一人のための医療であると同時に、次の一人を救うための医療でもございます。目の前の患者さんに一日でも早く希望を届けることが、そのまま世界に先駆けた未来の医療につながっていくことを願います。

以上でございます。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 桑原参考人、今のコメントについて何かコメントございますでしょうか。

○桑原参考人 どうもありがとうございます。まさにそのとおりだと思います。全てエッセンスをお話しいただいたと思います。

我々は患者さんと協働して、先ほど申し上げたとおりもう1例目をやる予定でおりますので、こういうものがちゃんと広がるように、これが日本の将来の在り方になると思っております。

ありがとうございます。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございます。

ほかに。

では、五十嵐構成員、よろしくお願ひします。

○五十嵐構成員 ありがとうございます。

本田構成員がおっしゃっていた、日本の国民の観点でしっかりと政策提言していくということに大いに賛同します。また、牧構成員がお話しされたスタートアップを中心にイノベーションを加速していくということ、継続して内閣官房レベルでの議論をしていくという点も含めて大いに賛成いたします。

その観点と関連して、外資系のグローバル企業の観点から、ぜひ2点、この官民投資ロードマップに入れていただきたいことがございます。それが、もうここで繰り返し議論されているとおり、「日本の特許品市場を先進国並みに成長させることを目指していく」ということの明記と、「その具体論、政策設計を内資・外資含めたオープンな官民協議会等の場で検討し、実行していく」という2点をしっかりと明記いただくことです。

グローバル企業として、中国や欧米が創薬の投資を徹底的に加速させている中で、残念ながら日本が注目されない国、価値のない市場になりつつあることに強い危機感を持っております。最大の要因は、デフレ下で日本円ベースでの社会保障費の絶対額をなるべくフラットに保ってきている結果として、1割ない社会保障費の中の薬剤費から、7割以上のコスト削減が毎年捻出されているという点です。今、日本もインフレになっていて、海外は更に高いインフレ下でどんどん市場を成長させ、投資を加速させている中、国内の社会保障費のマネジメントという観点も日本国民として理解しますが、ちょっと薬剤費の削減をやり過ぎた。

ここはパラダイムを変えるということをししないと、海外から、日本が創薬・先端医療を成長産業に持って行くのだという方向性は理解されないと思います。「コスト削減の便利

なターゲット」から、「危機管理投資・成長投資の対象」として国内市場を成長させ、税収増や投資増で国として投資を回収するという、まさしく高市首相がやられようとしているところに業界を位置づける。それを明確に宣言することが重要だと思っております。

そのメリットの1点目は、日本の経済成長のドライバーになることです。牧構成員が仰っていた通り、全ての産業横串での生産性向上や、前期高齢者、女性を含めた労働生産性向上への貢献というメリットもあります。2点目として、米国のMFN政策によって、さらにドラッグラグ・ロスが今後拡大していく危機にある中で、その阻止。また世界のスタートアップがきちんと日本で臨床試験をやってもらうというところのドラッグラグ・ロスの改善を通じた国民への貢献です。最後、3点目としては、ますます米国のMFN政策によって激化している世界間での投資獲得競争の中でしっかりと日本の国民に、いざというときにも同盟国で薬剤とワクチンを届けられる体制をつくっていくという国家安全保障の観点です。この3つの観点を実現する起爆剤として、国内の特許品市場を成長させるという位置づけが必要だと思っております。

以上です。

○内山健康・医療戦略推進事務局長 ありがとうございます。

ほかにございますでしょうか。

よろしければ、議事（1）はここまでとさせていただきます、これより議事（2）に移ります。

議事（2）につきましては非公開とさせていただきますので、ユーチューブでのライブ配信、それからメディアの方の御参加はここまでとさせていただきます。

少々切替えにお時間をいただければと思います。

（報道関係者退室）

○議事（2）では事務局より官民投資ロードマップの素案や官民投資額の考え方が説明された後、構成員から意見聴取、議論が行われた。