

## ウルトラオーファンドラッグの薬価算定の実態および薬価を予見する因子の研究

メタデータ	言語: Japanese 出版者: 公開日: 2023-06-12 キーワード (Ja): キーワード (En): 作成者: 川上, 明彦 メールアドレス: 所属:
URL	<a href="https://doi.org/10.20780/00033469">https://doi.org/10.20780/00033469</a>

東京女子医科大学大学院医学研究科および  
早稲田大学大学院先進理工学研究科

## 博士論文審査報告書

### 論文題目

ウルトラオーファンドラッグの薬価算定の実態および薬価を  
予見する因子の研究

Study on the actual status of the price calculation and factors in  
predicting drug prices for ultra-orphan drugs

申請者

川上 明彦

Akihiko KAWAKAMI

共同先端生命医科学専攻 先端治療機器設計・開発評価研究

2023年2月

## (1) 審査経緯

博士論文審査の経緯を以下に示す。

- 2022年10月29日 予備審査会
- 2022年10月29日 教室会議受理決定
- 2022年11月17日 先進理工学研究科運営委員会受理決定
- 2023年1月28日 公聴会
- 2023年2月6日 審査分科会
- 2023年2月25日 先進理工学研究科運営委員会

## (2) 論文背景・内容・評価

オーファンドラッグの開発・承認は、米国で加速している一方、日本はその潮流についていけておらず、このままでは希少疾患領域でのドラッグ・ラグは大きくなることが想定される。オーファンドラッグ開発の課題は多様であるが、オーファンドラッグのうち、特に患者数が少なく、国内患者数が1,000人程度未満であるウルトラオーファンドラッグは、その患者数の少なさや市場規模の小ささから特に開発が難しいと言われており、薬価や採算性の問題がウルトラオーファンドラッグ開発の重要な課題である。本研究では、ウルトラオーファンドラッグを特定・特徴の整理がなされた。また、日米欧主要国における薬価算定・保険償還・患者アクセス制度を分析し、ウルトラオーファンドラッグに対し、どのような特別措置が講じられているか整理し、日本の制度の特徴を明らかにしている。また、ウルトラオーファンドラッグの薬価、市場規模、薬価調整因子の実態を調査し、ウルトラオーファンドラッグの薬価予見因子を明らかにしている。さらにウルトラオーファンドラッグの薬価算定に関する提案をしている。

2022年10月29日の予備審査会において、1) 日本の薬価制度の問題点の全体像について論じること、2) 薬価算定の具体例を示し、全体像から実例にながれるように論ずること、3) ウルトラオーファンドラッグ開発を促進する立場以外の視点も踏まえて論ずること等について指摘がなされた。

それに対し、1) については、第1章に、医薬品の薬価制度の課題と、ウルトラオーファンドラッグの課題についての関係を追記。2) については、第3章にウルトラオーファンドラッグの薬価算定の実例を詳述し、また第5章には明らかになった薬価予見因子が実例でどのように対応しているか追記がな

された。3) については、第 3 章に記載されていた開発企業、医療財政・保険者、患者の視点に加えて、国民がそれぞれの立場を理解し、薬価算定制度の議論に参画すべきであることの追記がなされた。

2023 年 1 月 28 日の公聴会においてはさらに、1) 海外においてウルトラオーファンドラッグに対する特別措置が講じられている国がある一方日本で講じられていないことについて論ずること、2) 情報開示が求められる部分を明確にすること等の指摘がなされた。これに対して、1) 第 3 章にウルトラオーファンドラッグ開発促進施策の検討には、医療財政の観点を踏まえ、保険償還制度の見直しも含めた検討が必要であることを追記。2) 第 6 章に補正加算について適用された根拠のみならず不適用となった根拠も示し、今後の制度検討のためにも情報開示が重要であることの追記がなされ十分な内容となった。

本研究は、ウルトラオーファンドラッグを特定し、ウルトラオーファンドラッグの薬価や市場規模、薬価調整因子等をオーファンドラッグやその他の医薬品と比較し、ウルトラオーファンドラッグの薬価予見因子を明らかにした、薬価算定の課題を示した独創性の極めて高い研究である。ウルトラオーファンドラッグの薬価算定における課題は、ウルトラオーファンドラッグのみならずオーファンドラッグやその他の医薬品の課題に通じるものであり、今後の薬価算定制度の検討に資するものと考えられる。さらに、薬価予見因子を明らかにした点は、企業におけるウルトラオーファンドラッグの開発判断を容易にし、日本、さらには世界のウルトラオーファンドラッグの患者に革新的な治療薬を届けることにつながると考えられ、医療機器レギュラトリーサイエンスの研究として意義が極めて高い。以上により、博士（生命医科学）の学位論文として十分に価値あるものと認める。

2023 年 2 月

(主査)

東京女子医科大学教授、早稲田大学客員教授  
博士(工学)(東京大学)

正宗 賢

(副査)

早稲田大学理工学術院 教授  
博士(医学)(大阪大学)

宮田 俊男

早稲田大学総合研究機構  
医療レギュラトリーサイエンス研究所 顧問  
医学博士(東京女子医科大学)

笠貫 宏

早稲田大学理工学術院 客員教授  
博士(生命医科学)(早稲田大学)

村垣 善浩