

# 医薬品業界の 10年後の未来像

—グローバル潮流における日本の課題(上)—



# 目次

はじめに	3
<b>01</b> 世界の医薬品産業を動かす6つの潮流—構造変化を読む—	6
1. 人口・疾患構造の変化	6
2. 薬価の均質化	8
3. 医薬品開発制度の変化	9
4. テクノロジーの進化 —AI・RWE・DCTが生み出す「創薬・臨床開発運営力」—	11
5. 地政学リスク —「供給の信頼性」が新しい競争軸へ—	15
6. 患者主権とデータ連携の加速 —「価値の共創」が制度を動かす—	16
まとめ：構造変化の10年を超えて —「実装力」で競う医薬品産業へ—	19
<b>02</b> 日本医薬品事業の課題：構造的な課題と処方箋	20
1. 各ステークホルダーの立場	20
2. 日本の医薬品産業はどうすべきか （薬価を中心とした企業側の課題とアクション）	25
3. 「薬価政策」を医療費抑制から国家戦略へ引き上げるために	32
まとめ：国が取るべき方針を整理する	36
おわりに	37

## はじめに

なぜ10年後を見据える必要があるのでしょうか。

医薬品産業は、研究開発から新薬が承認・上市されるまでに9～17年を要する長大な産業です<sup>1</sup>。この長期プロセスは、科学的検証や規制に関する制度の改正、市場構造の変化に加え、最近では米国の医療政策の変更などの外部要因に大きく影響を受けます。そのため、医薬品企業にとって「10年後」を見据えることは、単なる未来予測ではなく、投資配分、組織能力、人材戦略、さらにはM&Aを含む外部連携を判断する際の基準を定める行為に等しく、短期的な薬価改定や決算の動きにとらわれず、長期的に事業を持続させる視座を獲得することに他なりません。

一方で現在の世界の医薬品産業は、長期間の創薬サイクルを書き換えるような転換期に来ています。

mRNA・遺伝子治療などの新しいテクノロジーの台頭により、初期探索から臨床設計までがデータ駆動型に置換されつつあります。米国では、米国食品医薬品局(FDA)がAI戦略やリアルワールドエビデンス(RWE)の活用を法制度に組み込み、創薬AI企業の中には臨床試験段階に到達した事例も報告されています<sup>2</sup>。欧州連合(EU)もDARWIN EUを中心に規制審査でのRWE活用を進めており、規制主導において迅速な審査システムが実装されている状況です。医薬品開発におけるAI活用により、現在の低速または停滞している開発期間が大幅に短縮され、さらに成功率が20～50%にまで向上して開発スピードが改善する可能性も指摘されています。言い換えると、AIによる開発加速は「実効特許期間」を延ばし、企業が高価格で最大限の収益を得られる期間を長くすることを意味します。成功率向上と開発期間短縮の結果、創薬コストを数十億米ドル単位で削減することが期待されているのです<sup>3</sup>。これに対し日本では、医療情報データベース「MID-NET」や匿名医療保険等関連情報データベース(NDB)などのデータベース整備は進むものの、データアクセスの制約や患者参画の不足といった課題が残り<sup>4</sup>、AIやRWEを国際競争力に結び付ける体制は十分に確立していないのが実情です。

1 日本医療研究開発機構「医療研究者向け知的財産教材」, 2017

2 FDA「Real-World Evidence」, 2025; Insilico Medicine「First Generative AI Drug Begins Phase II Trials with Patients」, 2023

3 WHO「Benefits and risks of using artificial intelligence for pharmaceutical development and delivery」, 2024

4 日本製薬工業協会「RWD及びRWE活用のための課題整理と優先順位付けラウンドテーブル 報告書」, 2025

他方、日本国内市場に目を向けると、成長産業としての医薬品産業は厳しい状況にあります。日本の医薬品市場の規模は、2024年の11兆3,300億円から、2029年には12兆1,520億円となる見通しです。年平均成長率(CAGR)は1.4%と予測されていますが、欧米は3~4%の成長が見込まれています<sup>5</sup>。また欧州製薬団体連合会(EFPIA)によれば、2010~2023年の研究開発費の伸び率は、中国の+794%、欧州の+87.6%、米国の+75.4%に対し、日本は+20.6%にとどまっています<sup>6</sup>。これまで日本企業は守りの強さ、つまり品質・安定供給・薬事コンプライアンスに優れると言われてきました。しかし、2020年以降、ジェネリック医薬品(後発医薬品)メーカーの品質不正が相次ぎました。攻めにおいては投資・国際臨床・データ統合で後れを取り、守りの部分においても、ビジネスの基盤が盤石ではなくなりつつあるというのが現実ではないでしょうか。

日本医薬品市場の懸念として、薬価改定の頻度や他国と比較した薬価の低さが指摘され、収載直後から平均5~7%程度の価格引き下げが毎年行われています<sup>7</sup>。近年、薬価改定は中間年改定を含め頻度が高まり、企業側から見ると改定タイミングが収益計画に与える影響は増しています。加えて2025年度改定では、新薬創出・適応外薬解消等促進加算に関して、過去に維持されてきた加算分の「累積額控除」が適用されました。そのため一定の局面では薬価が段階的ではなく一括で下落し(特許期間中の薬価下落リスクは、累積控除というより、乖離率などの要件により加算がつかないことで顕在化し得る点に留意が必要である)、今後も薬価改革と称されるものは基本的に価格引き下げが軸になるように思われます。

最終的に企業が投資を回収できる「実効特許期間」は現在でも平均11年前後とされ、米国の13年、欧州の12~15年と比べて不利な環境にあり<sup>8</sup>、その結果ドラッグロスも含め、昨今の医薬品価格に関する環境リスクにより医薬品アクセスに影響が及ぶ可能性が高いと考えられます。加えて、日本企業の開発戦略には「ジャパンファースト」志向が最近まで残っていました。例えば国際共同治験(MRCT)の枠組みがICH E17ガイドライン(2017)で整備された後も、日本では国内第I相試験を必須とする慣行が長く続き、国際同時承認に向けた早期参画を阻害してきました<sup>9</sup>。また企業の経営的側面から見ても、欧米の大手医薬品企業が「ローリング型」の中期計画を通じて柔軟に戦略更新を行っているのに対し、日本企業の中期計画は固定的な期間を区切るものが主流であり、外部環境の急変に対する適応力に差が生じています。

5 IQVIA「The Global Use of Medicines 2025: Outlook to 2029」, 2025

6 EFPIA「The Pharmaceutical Industry in Figures 2025」, 2025

7 中央社会保険医療協議会「令和7年度薬価改定について(参考資料)」, 2024

8 George Mason University「Pharmaceutical “Nominal Patent Life” Versus “Effective Patent Life,” Revisited」, 2024; 欧州特許庁「Protection beyond 20 years: data on SPCs and other term extensions for pharmaceutical patents」, 2024

9 PMDA「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」, 2023

さらに国の医薬品競争力の観点で言えば、今後、中国のバイオ産業の台頭も大きな変化の要因となると考えられます。近年の中国のバイオ産業の成長は、単なるキャッチアップ局面を超え、「構造的な競争力形成フェーズ」に移行している段階にあります。米国はいまだ創薬R&D、論文数、基礎研究の質において世界をリードしているものの、中国は研究論文数において世界全体の30%超を占める規模に達し、量的蓄積から質的転換を伴う段階に入りつつあります。特にこの10年、中国国内で創出されたBIC(Best in class)/FIC(First in class)の革新的新薬が米国市場で上市され、商業的にも臨床的にも成果を上げている事実は、中国創薬の質が既にグローバル基準に到達していることを示しています。これは、中国がもはや「中国国内市場向けの創薬拠点」ではなく、「グローバル医薬品開発の供給地」として認識され始めていることを意味しており、中国市場進出の是非あるいは競争相手・パートナーとしてどう向き合うかについて日本企業は対応を迫られる局面になっていくことが想定されます。

以上のように今後日本企業が10年間で直面する環境変化や課題は多岐にわたりますが、本稿の目的は、これらの課題を整理し、日本企業が10年先を見据えてどのように対応すべきかについて示唆を提示することにあります。「10年後を考える」とは、企業が持続的成長を遂げるために必要な意思決定のよりどころを確立するための行為であると定義し、日本企業が重要な意思決定をしていくための論点を整理します。第1章では「世界の医薬品産業を動かす6つの潮流」を俯瞰し、第2章で「日本医薬品事業の課題：薬価政策を中心に考える」というテーマを設定し総括します。

また本稿の続編では、競争優位の源泉と未来モデルを探るため「日本企業の類型と外資系企業の強さの源泉」を分析し「10年後の基本シナリオ(背景、環境)」「シナリオ別の勝ち筋」についても示唆を提示することを想定しています。さらに詳細な視点で企業に必要な差別化領域・能力・KPIなどの価値を可視化し、10年後に日本企業が勝ち残っていくための道筋についても考察する予定です。



# 世界の医薬品産業を動かす6つの潮流 ——構造変化を読む——

現在の世界医薬品産業は、確実に地殻変動を起こしている。

その背景には人口・疾患構造、財政と薬価制度、医薬品開発制度、テクノロジーの進化、地政学、そして患者主権とデータ連携の加速という6つの潮流があり、互いに絡み合いながら次の10年に医薬品産業の未来へ大きな影響を及ぼす。

これを企業分析の立場で言い換えれば、市場規模、制度の仕組み、技術の性質、サプライチェーンの地理的要素、医薬品価値の定義など、それぞれの要素が同時多発的に変化しつつある時代において、「変化をもたらす構造を読む力」が企業の競争力を左右する。

本章では世界の医薬品産業を動かす6つの潮流について見ていく。

## 1. 人口・疾患構造の変化

人口動態の変化は、医薬品産業にとって将来を読む際の最も根底にあるドライバーである。

世界の高齢化率(65歳以上人口の割合)は、1950年の5.1%から2020年に9.3%へ、さらに2060年には18.5%に達すると見込まれている。主要国でも、2020年→2030年→2040年の高齢化率は、日本が28.9%→31.1%→35.3%、米国が16.1%→20.4%→22.0%、英国が18.6%→21.0%→23.4%と上昇を続けている<sup>10</sup>(図表1)。

この高齢化率の進展は、単なる「患者数の増加」ではなく、治療期間の長期化にも影響している。つまり、がん、糖尿病、心血管疾患、認知症といった慢性疾患は、治療期間が平均で10～20年に及び、患者1人あたりの薬剤使用量も増大する。医薬品市場は「発症の増加」もさることながら「治療期間の延伸」によって拡大しており、医薬品企業は短期的な薬剤販売ではなく、長期的な疾患マネジメントを設計するプレイヤーへと変貌を迫られている。

一方、希少疾患は人口動態の中で新たな焦点として浮上している。EURORDISの調査によれば、欧州の希少疾患患者は診断確定まで平均4.7年を要し25%は「診断確定まで5年以上を要し、また診断過程で少なくとも8人の医療専門職に相談した患者は22%に上る」。専門センターに紹介された患者については、診断期間が1.1年短縮していることが確認されており<sup>11</sup>、今後の希少疾患市場拡大には、診断ネットワーク・遺伝子検査・患者レジストリの整備が不可欠である。

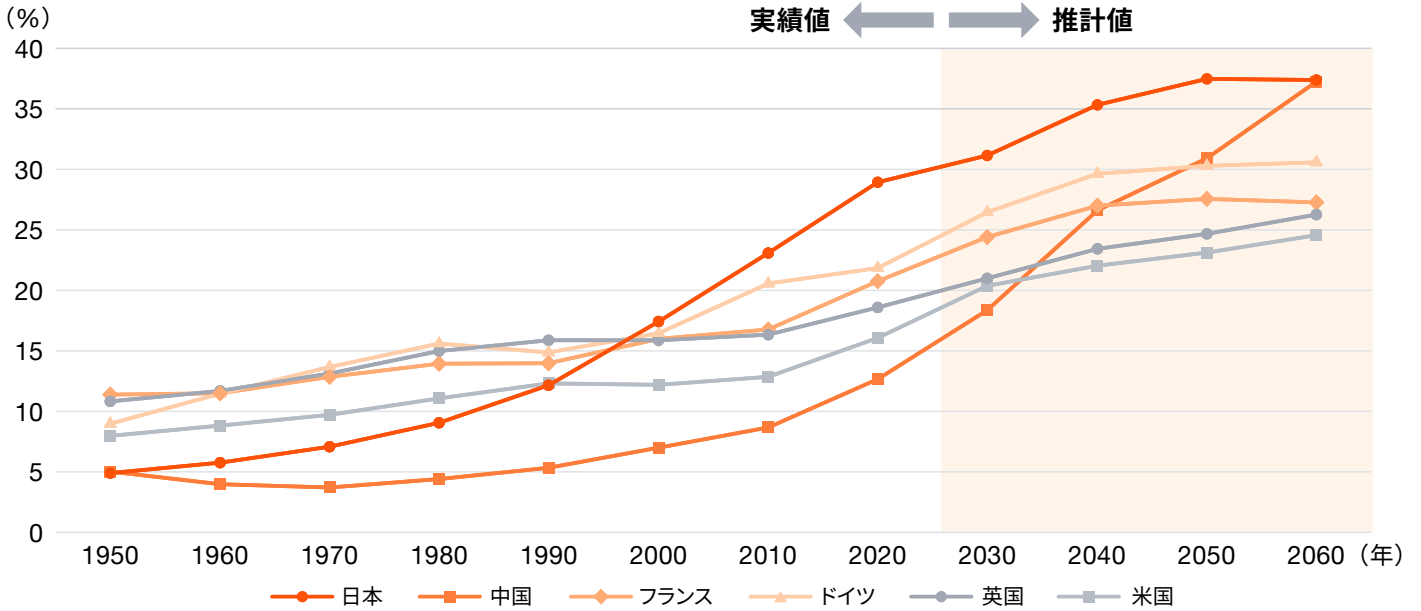
アジア太平洋地域では日本・韓国・台湾・シンガポールを中心に希少疾患政策が整備され、市場拡大が続く一方で、中国・インド・東南アジアでは制度整備が遅れており、10年後に潜在市場が一気に顕在化する可能性がある<sup>12</sup>。

10 内閣府「令和7年版高齢社会白書(全体版)」, 2024

11 EURORDIS「Major survey reveals lengthy diagnostic delays for rare disease patients」, 2024

12 IQVIA「Rare Diseases in APAC: The Unmet Potential」, 2024

図表1：主要先進国<sup>※</sup>の65歳以上の高齢者割合



※世界の医薬品市場規模上位5カ国+英国

出所：UN, World Population Prospects: The 2024 Revision

希少疾患用医薬品市場の規模(図表2)は、2025年に2,309億米ドル、2030年に3,125億米ドルへ成長(CAGR 6.2%)すると予測されており<sup>13</sup>、規制上の優遇措置、AI・遺伝子・細胞治療のブレークスルーがそのけん引力となっている。高齢化と希少疾患に共通するのは、いずれも「治療期間が長く、これらの医療が社会システム化する」という構造変化である。

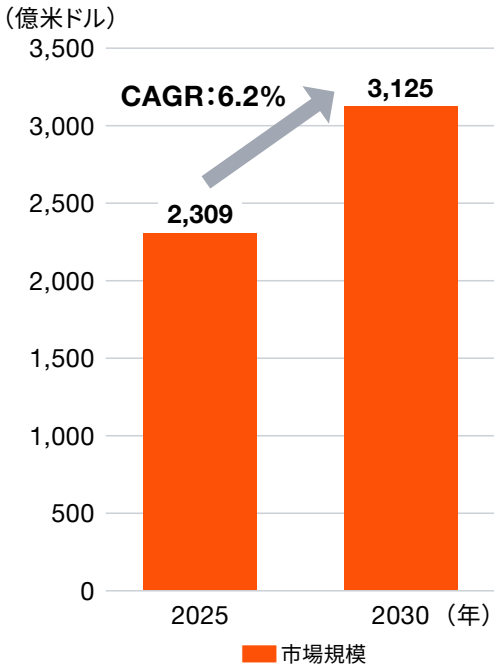
しかしながら、希少疾患用医薬品市場は、革新的治療と政策支援を背景に力強い成長を継続する一方で、価格低下圧力や独占期間短縮の動きがリスク要因として作用している状況であり<sup>14</sup>、その成長は楽観視できない。

13 Mordor Intelligence「Orphan Drugs Market Size & Share Analysis - Growth Trends And Forecast (2025-2030)」, 2025

14 IQVIA「From Orphan to Opportunity: Mastering Rare Disease Launch Excellence」, 2025

図表2：希少疾患用医薬品市場の推移

希少疾患用医薬品市場規模推移とCAGR



希少疾患用医薬品市場規模推移とCAGR

成長要因	CAGRに与えるインパクト
超希少疾患向けの遺伝子・細胞治療プラットフォームの急増	+2.1%
希少疾患の有病率の上昇	+1.8%
オーファン指定医薬品の市場独占	+1.5%
政府による有利なインセンティブと税額控除	+1.2%
AI駆動の適応型試験によるタイムライン短縮	+0.8%
棚上げされた第II相資産の再利用	+0.6%
患者1人当たりの高い治療コスト	-1.4%
保険者による適応範囲の厳格管理と実臨床での有効性評価	-1.1%
試験およびマーケティングのための患者プールが限定的	-0.9%
独占販売期間を短くする法改正の動き	-0.8%

■ 促進要因    ■ 制約要因

出所：Mordor Intelligence「Orphan Drugs Market Size & Share Analysis, 2025-2030」

## 2. 薬価の均質化

第2の潮流は、薬価統制である。米国ではインフレ抑制法(IRA)に基づくメディケアによる医薬品薬価交渉制度が進み、初回10品の最大公正価格(MFP)が2026年から適用される。2027年には15品が追加され、2028年以降も適用範囲が順次拡大される予定となっている。

交渉後の価格引き下げ幅は▲38～79%<sup>15</sup>と大きく、薬価交渉制度が“例外”ではなく“常態”として定着するかが大きな注目点となる。

また、米国の最恵国待遇(MFN: Most Favored Nation)薬価が再浮上したことは、今後の医薬品企業の収益性に大きな影響を及ぼすだろう。IRAから踏み込んだ米国の薬価統制であり、現状では米国と各国の取引に加え、米国企業⇄トランプ大統領と各国の企業の取引が並行して進んでいることが特徴的である。これから上市される薬剤も対象になっており、医薬品企業にとって大きな経営アジェンダとなっていくことに疑いはない。

15 CMS「CMS Delivers Savings for Seniors on 15 Major Drugs for Cancer and Chronic Disease」, 2025

加えて米国では、薬価を抑制し、さらに国内の内部統制を強固にすべくPBM (Pharmacy Benefit Manager: 薬剤給付管理会社)改革透明化法案の整備に向けた動きが広がっており、リベート構造や薬局支払いの情報開示義務が強化されつつある。340Bプログラムの見直しや直販モデル(TrumpRx.govなど)の設計も、価格形成メカニズムに大きな影響を及ぼすだろう。世界最大規模を誇る米国の医薬品市場の変化を読み解かなければ、10年先を見据えた長期戦略の重要性もさることながら、現状の短期的な波にのまれる可能性がある。また、従来の米国を中心とした投資回収モデルが崩れようとしている面もある。

世界規模で薬価のグローバル均質化⇨抑制が進むと、同時に参照国の選定や価格設定時期が新たな企業の戦略変数となり、上市戦略の優先順位そのものが企業経営の中核に据えられてくるだろう。

### 3. 医薬品開発制度の変化

第3の潮流は医薬品開発の制度・考え方の変化である。世界の医薬品企業は、依然として最大市場である米国を中心に制度の動向を見ている。売上規模、価格水準、研究開発投資回収の観点から見れば、これは合理的な判断である。さらに近年、欧州および米国の制度変化は、それぞれ独立した規制改正ではなく、医薬品の開発・上市・価格・アクセスを一体として再定義する方向に設計されつつある。

欧州において2025年1月から本格運用が開始された共同臨床評価(JCA: Joint Clinical Assessments)は、医療技術評価(HTA)に関する新規制であり、単なる欧州ローカルのHTA制度改革ではない。これはグローバルなエビデンス設計や事業戦略に構造的な影響を与える制度として、位置付け直す必要があると考える。この制度の本質は、「HTAを各国が事後的に行う評価」から、「開発初期から前提として織り込む共通ルール」へと格上げた点にある。

JCAの下では、PICO(Patients<患者>、Intervention<介入>、Comparison<比較>、Outcome<結果>)設計が早期に固定化され、後段での比較変更やアウトカムの読み替えは極めて困難になる。

その結果、上市国の優先順位、価格・償還戦略、科学的エビデンスの設計は分けて考えることができず、同時に設計されるべき要素となるだろう。

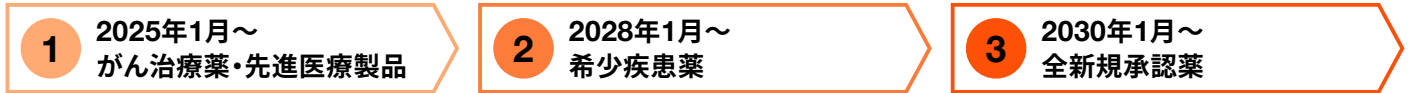
図表3にJCAの概要を示す。2025年1月から運用が開始され、がん・細胞・遺伝子治療から段階的に対象が拡大する。2030年には全新規承認薬が対象となる見込みであり、開発初期から欧州各国の治療標準を考慮したPICO設計が求められることになる。

図表3：欧州共同臨床評価(JCA)の概要について

欧州連合(EU)は2021年に医療技術評価(HTA)規則を採択し、2025年から共同臨床評価(JCA)を段階的に導入

共同臨床評価(JCA)とは	JCAの目的	JCAプロセス
医薬品や医療機器などの医療技術の臨床的有效性・安全性を、EUレベルで共同で評価(Joint Clinical Assessments:JCA)する枠組み	EU加盟国間で医療技術評価(HTA)の臨床評価部分を調和させることによる臨床エビデンス評価の合理化、重複の削減、透明性の向上	製造業者は製品特性概要と臨床概要を欧州医薬品庁(EMA)へ申請し、同時にEU HTA事務局にも提出。EMAの審査プロセスとほぼ並行して進行

■適用範囲とタイムライン



■医薬品企業への影響

- 十分なリソースの確保: JCAはEMAの審査プロセスとほぼ並行して進むため、リソースひっ迫に対応する体制構築が必要
- 部門横断的なチームの連携: 臨床、薬事申請、医療経済・アウトカムリサーチ(HEOR)、マーケットアクセス、コマーシャルの各部門間の連携が不可欠
- 強力なエビデンス戦略: 主要試験およびリアルワールドエビデンス(RWE)の早期計画が重要
- PICO(患者・介入・比較・アウトカム)の優先付け: 重点市場に焦点を当て、最も重要なPICOの組み合わせに応じて試験を設計

出所: European Commission, “Joint Clinical Assessments”, 医薬政策企画 P-Cubed, 「医療技術評価に関するEUの新規則が発効」、各種資料からPwC作成

これまでのグローバル開発・販売戦略は、「まず米国で承認を取り、その後に欧州、日本でアクセスを調整する」という発想が主流であった。しかし、米国では承認要件が前倒して厳格化(例として迅速承認制度では、検証試験が「承認後に計画される」のではなく、承認前または承認直後から実質的に稼働していることが求められる方向に明確化されている)され、これは開発・製造・市販後を分断せず、事業としての実装力まで含めた総合的な計画能力を企業に要求する。欧州では、JCAによりHTAが開発の前提条件となった現在、承認(Regulatory)と価値(HTA・価格)を分けて考えること自体が困難になっている。

今後の競争力は、承認×HTA×価格×導出戦略などを開発初期から同時設計できるかにかかっている。JCAは欧州の制度であるが、実態は「グローバル医薬品開発の設計思想そのものを変える制度」と考えるのが重要であり、これは今後、薬剤の価値≒価格を設定していく上で日本企業にとっても避けて通れない戦略転換点であると捉える。つまりHTAに関するEUの新規則が発効され、JCAを前提とした早期計画や強力なエビデンス戦略が必要となり、「上市国の優先順位」「価格設定」「科学的エビデンスの組み合わせ」は一体化され、今までの「承認のみを目指す開発設計」は通用しない時代となる。

JCAを前提とした制度更新によって、今後、日本企業にとって開発戦略の課題を示す。

#### (1)「導出・共同開発モデル」が通用しにくくなる可能性がある

これまで日本企業はグローバル治験の一部を担当し、市場アクセス設計はパートナーに依存することが多かった。JCA時代になると、PICO・比較・アウトカム設計が早期から固定化され、後段での“アクセス調整”が困難となり、導出前からHTAを前提にした開発設計が求められる。

#### (2)欧州が「二次市場」ではなくなる

JCAはEU全体の臨床評価を統合するため、欧州での評価がグローバル価値ストーリーの基準点になりやすくなる。欧州での評価結果は、国際価格参照、他地域(中東、APAC)での償還判断に波及する可能性がある。国際参照価格においても米国価格への影響が大きいため、欧州軽視はグローバル価値毀損リスクになる可能性もある。

#### (3)「日本発エビデンス」の使い方が変わる

日本人のデータで構成する国内RWEは、JCAでは直接の主要根拠になりにくい一方、サブグループ、外的妥当性、補強データとしては価値を持つだろう。しかし、戦略的に組み込まなければ「評価されない」可能性があるため、日本企業は持っているデータを、JCAで“通る形”に翻訳する能力が問われる。

### 4. テクノロジーの進化—AI・RWE・DCTが生み出す「創薬・臨床開発運営力」—

第4の潮流は、テクノロジーである。AIを使った創薬市場の規模は、2024年の20.2億米ドルから、2029年には63.4億米ドルへと拡大(CAGR 25.7%)すると予想されている<sup>16</sup>(図表4)。AIは創薬探索だけでなく、臨床開発のプロトコル最適化や患者リクルート、シミュレーションにも活用され、開発期間を平均18~24カ月短縮できると試算されている<sup>17</sup>。

AI創薬に関して前向きな事例も出てきている。従来の半分程度の期間で臨床入りし、フェーズ移行確率を79%の精度で予測したと報告されている(図表4)。最近、日本からもAIを用いた創薬により、従来は1桁だった新規化合物のヒット率が60%近くまで向上したことも報告されているAIは、創薬サイクルの短縮と成功確率向上につながり得ることを示唆しているが、臨床試験段階に進む化合物の選別には課題も多い。しかしながら、現在は標的探索から開発候補品の同定までの部分でのAI活用が強化されている。今後、創薬部門の業務効率化や人材の有効活用、さらには臨床開発までを対象とするようAIが進化し、意思決定に関する内容が可視化・最適化されれば、開発判断の迅速化が可能になる。医薬品業界では、AIを活用して研究開発期間の短縮と成功確率の向上を同時に実現できるかどうかは、企業価値を左右する要因になりそうだ。ただ現時点において、医薬品企業におけるAI活用が直接的かつ明確な経済価値(収益)を安定的に創出している事例はない。多くの企業では、AIは依然として業務効率化、作業時間短縮、分析高度化といったコスト側の改善手段として位置付けられており、AI単体が新たな収益源となる段階には至っていないのが実情である。

16 Technavio「Global Artificial Intelligence Market in Drug Discovery 2025-2029」, 2024

17 Mordor Intelligence「Orphan Drugs Market Size & Share Analysis - Growth Trends And Forecast (2025-2030)」, 2025

しかしながら、こうした現状認識は「AIの影響が限定的である」ことを意味するものではない。むしろ、AIが本格的に社会実装される時代において、企業の競争力はAIへの向き合い方そのものによって大きく分岐するのではないだろうか。医薬品業界も例外ではなく、AIを単なるITツールとして扱う企業と、経営・研究・組織の前提条件として捉える企業との間で、中長期的な差は拡大していくと考えられる。

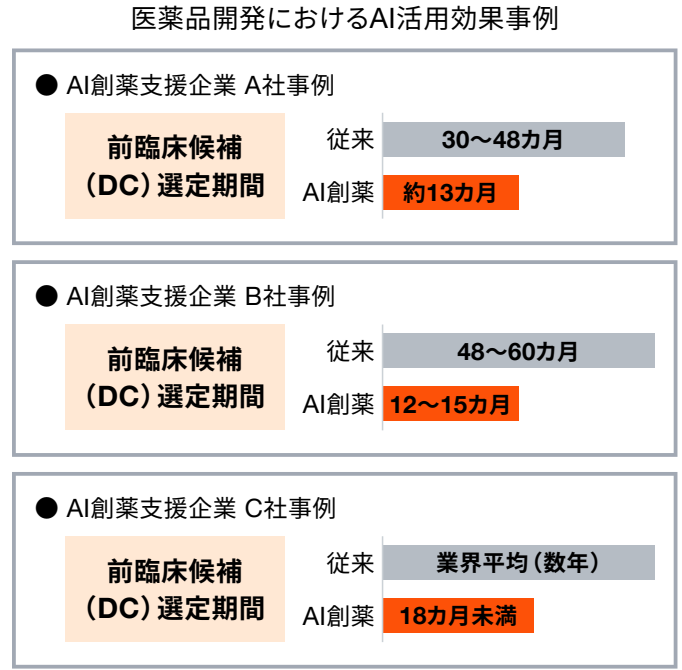
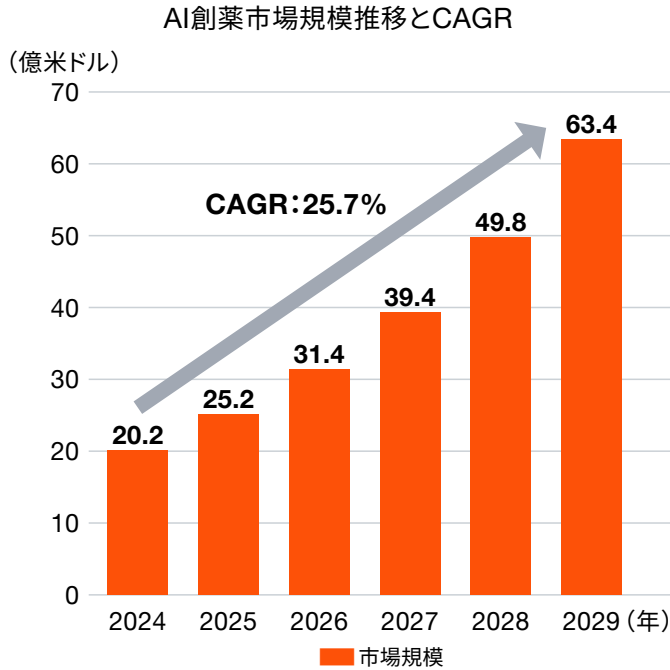
つまり、AI時代における競争優位は、短期的なROIやPoCの成果では測ることができず、経営者がAIを「今期の効率化施策」として捉えるのか、「10年後の競争力を規定する基盤投資」として捉えるのかによって、意思決定、投資配分、人材戦略が大きく異なる。AI時代においては、経営トップの認識差そのものが企業間格差を生む要因となる。

この変化は、組織の在り方にも及ぶ。将来的には、組織のリーダーが主にマネジメントすべき対象は「人」ではなくなり、多数のAIエージェントと人間の協働環境になる可能性も否定できない。その際に求められるのは、従来型の管理能力ではなく、AIが提示する結果を適切に解釈し、意思決定に統合するための判断力、思考力、想像力である。加えて、AIの活用が高度化するほど、倫理観・責任の所在・社会的影響を踏まえた判断が不可欠となるため、AIを使いこなす前提としての倫理教育、リテラシー教育は、今後の企業教育の中核テーマとなるだろう。結果として、これまでの社内研修体系は抜本的な見直しを迫られる可能性が高い。

現在のAI活用は、多くの企業において研究、開発、製造、営業など部門単位での業務効率化にとどまっている。しかし今後は、これらの個別活用が統合され、創薬バリューチェーン全体を横断するプラットフォームとして再構成されるかどうか重要な分岐点となる。データ、AIモデル、意思決定プロセスが部門を越えて連結され、創薬生成から臨床、製造、上市后までを一貫して最適化できる企業は、創薬に要する時間の短縮、失敗確率の低減、開発コスト構造の改善につながり、結果として経済価値を生む好循環を好循環の構築につながる。

このような「AIを中核とした創薬生成プラットフォーム」を構築できるか否かが、今後10年で医薬品企業の競争力を大きく左右すると考えられる。AIの導入有無ではなく、どのレベルまで統合し、どの前提条件を組織として受け入れられるかが、企業間の勝敗を分ける時代に入ろうとしている。

図表4：AI創薬市場の推移とAI活用の効果事例

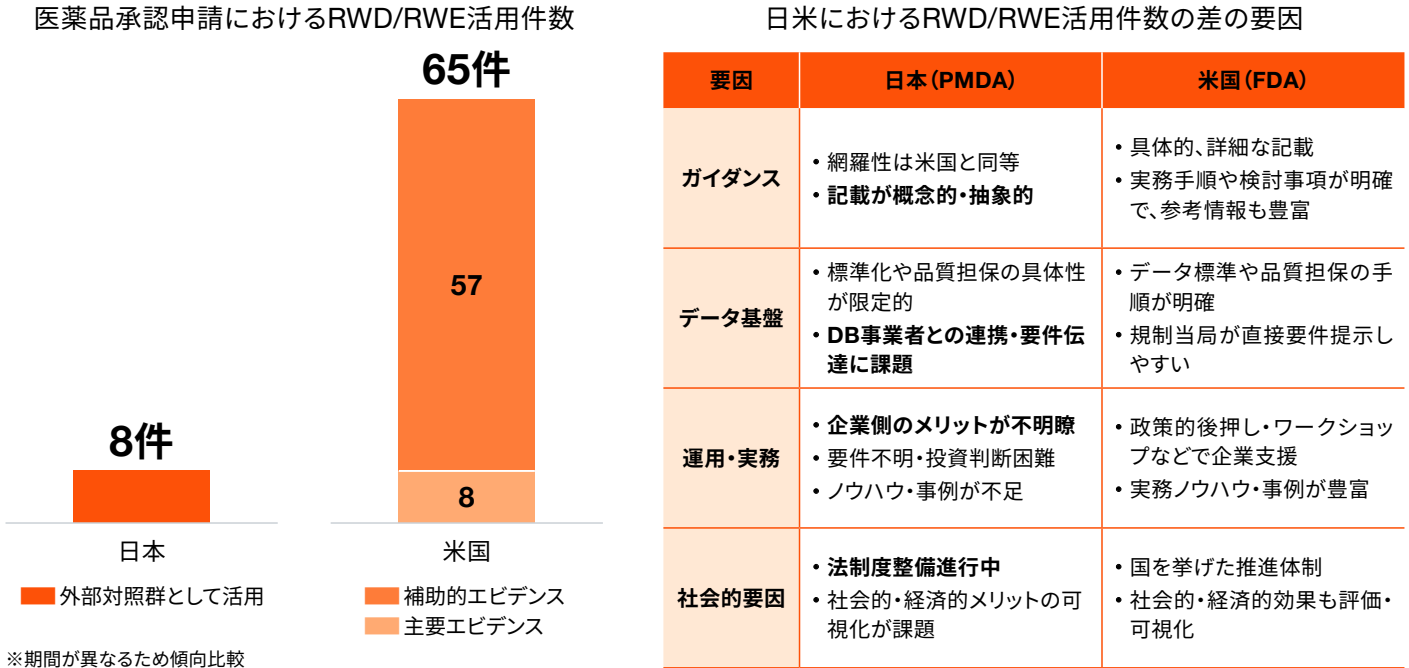


また、開発分野でも分散型臨床試験(DCT)は新型コロナウイルス感染症(COVID-19)の世界的流行以降、急速に普及し、欧米では完全分散型が標準化、日本でもハイブリッド型の採用が拡大している。デジタル同意(eConsent)や電子患者日誌、遠隔モニタリングが一般化することで、臨床試験の空間的制約が消えつつある。

さらに、RWEは承認審査や適応拡大に直接活用され、FDAでは2021年6月時点ではあるが88件のRWE活用承認を実現している状況である。将来的にはこれらが業界標準となり、コスト削減とともに薬価に大きな影響を及ぼすだろう。ちなみに日本では4件<sup>18</sup>と米国の88件を大きく下回り、現状活用されているとは言い難い(図表5)。

18 日本製薬工業協会「Co-creation -共創とイノベーションで築く、医療の未来と新しい価値-」, 2025

図表5：日本のRWD/RWE利活用の現状と米国との活用件数の差



※期間が異なるため傾向比較

出所：日本製薬工業協会「日米におけるRWD/RWE利活用に関連するガイダンスの比較」を基にPwC作成

2030年代には、AI×DCT×RWEの統合運用が新しい創薬・臨床開発モデルとして確立し、企業の競争力はこれらのテクノロジーを使った「臨床運営力」へと転換すると予想される。開発部門は、もはや科学の領域にとどまらず、デジタル実装力、データ解析力、現場運営力を含む統合オペレーション能力として問われる時代となり、テクノロジーによって効率とコスト削減が従来よりも大きな変革を遂げる部門になると考える。



## 5. 地政学リスク—「供給の信頼性」が新しい競争軸へ—

第5の潮流は、地政学である。

米国では2025年、大統領令により医薬品原薬(API)の国家備蓄制度(Strategic Active Pharmaceutical Ingredients Reserve:SAPIR)の拡充が進められており、国家安全保障上重要な医薬品について約6カ月分のAPI備蓄を確保する方針が示された。加えて中国関連企業との取引が即時停止される可能性を含む厳格な規制が盛り込まれたBIOSECURE法は、2025年12月に国防権限法に盛り込まれた。同法は、懸念対象となるバイオテクノロジー企業を利用すること、例えば医薬品の原薬または有効成分の製造を対象企業に外部委託することなどにより、その製品が米国へ販売できないことが想定される。

また、医薬品研究開発を支える米国政府助成金に関連している医薬品企業にも影響を及ぼし、連邦資金が懸念対象のバイオテクノロジー企業に流れないよう、助成対象のプロジェクトを見直す必要があり、創薬サプライチェーンや価格価値モデルに大きな影響をもたらす可能性がある。またEUでは「供給義務」や「不足報告制度」が制度化され、企業が全加盟国に安定供給に関する責務を負うことになる<sup>19</sup>。

こうした政策の背後には、COVID-19の世界的流行以降に顕在化した医薬品サプライチェーンの脆弱性がある。現実には世界のAPIサプライチェーンにおける中国の存在が大きい。世界のAPI製造に使用される中間体の約80%(主に化学合成APIやジェネリックAPI向け、低価格帯のバルク品)は中国で生産されている。米国のAPIおよび中間体の中国から直接輸入はわずか20.4%であるが、米国が他国(欧州、インドなど)から輸入するAPIの多くは中国製の中間体を原料として使用している。欧州ではAPIの約46~47%をインドと中国に依存している。インド(およびその他の海外諸国)から輸入されるAPIの多くも、中国で生産された中間体を原料として使用され、インドでAPI製造に使用される中間体の約70~85%は中国が供給しており、中国は主に中間体の供給により、世界のAPIサプライチェーンにおいて支配的な地位を確立している<sup>20</sup>。API製造の7割以上が中国・インドに集中するという現実の下で、原薬供給の寸断リスクは、もはや一過性のオペレーショナルリスクではなく、「地政学的コスト」として企業価値に織り込まれる段階に入っている。

さらに、低分子からバイオ医薬、核酸、細胞・遺伝子治療へとモダリティが多様化する中で、必要とされる製造プロセスや原材料、設備要件は大きく変化し、サプライチェーンの構造自体が再編を迫られることになるだろう。

こうした環境下では、APIの調達先分散、在庫基準の引き上げ、代替製造ラインの確保といった取り組みは、単なるリスク対応策にとどまらず、供給安定性そのものを経営指標として定量的に管理する枠組みへと昇華していく。結果として、サプライチェーンレジリエンスの水準が、企業の持続性と評価を左右する新たな経営指標となる可能性が高い。例えば経営での使われ方として、「地政学リスク発生時の売上影響感応度分析依存度〇%以下」などを中期計画の制約条件として設定するなど供給のリスクマネジメント力そのものが競争優位の源泉となるという構造変化であり、日本企業にとっても大きな決断を迫られることになるだろう。

19 Council of the EU「Pharma package’: Council agrees its position on new rules for a fairer and more competitive EU pharmaceutical sector」, 2025

20 Chemical Pharmaceutical Generic Association (CPA), The Evolving APIs World: Crunches in the Global APIs Supply Chain (2021)”, Drug, Chemical & Associated Technologies Association (DCAT), “Global API Market: Crunching the Numbers”

## 6. 患者主権とデータ連携の加速—「価値の共創」が制度を動かす—

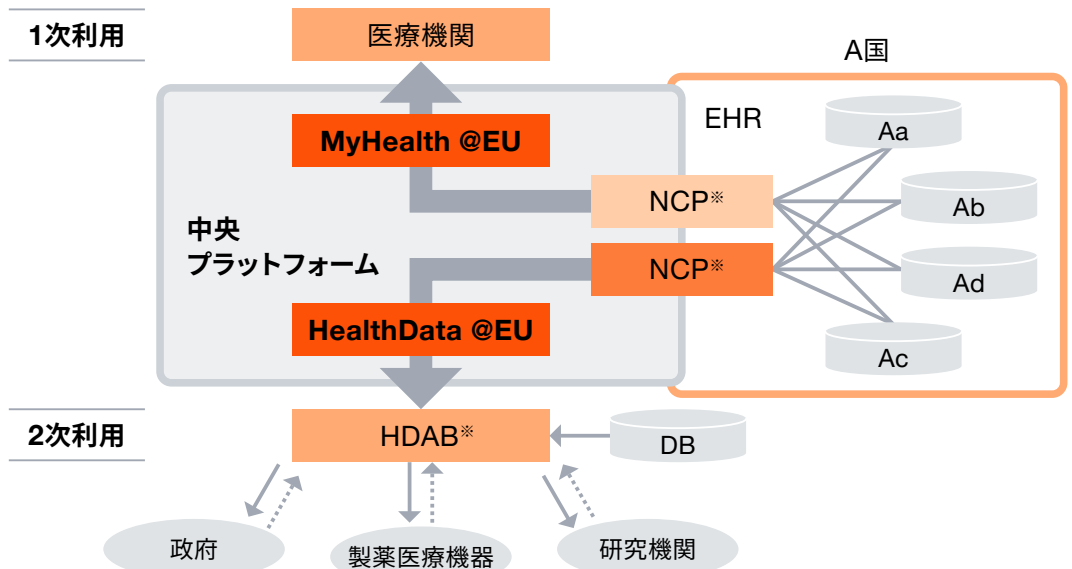
最後の潮流は、患者主権とデータ連携の加速である。

欧州では、European Health Data Space (EHDS、図表6)によって、国境を越えた医療データ共有が法的に整備された。安全かつ互換性のある仕組みを通じて、個人・社会双方に持続的な価値をもたらす欧州初の大規模な構想である。EHDSは規則であるため、加盟国には参加が義務付けられる。EHDSを基盤とする患者報告アウトカム (PROs) やリアルワールドデータ (RWD) は、承認・償還・評価の全てで活用されるべきだという共通認識となっていくだろう。

一方、価値という観点では、米国においてValue-Based Pricing (VBP) モデルが広がり、遺伝子治療など高額薬剤の成果連動型支払いが制度化されつつある。米国CMS (Centers for Medicare & Medicaid Services) の「CGTアクセスモデル: Cell and Gene Therapy Access Model」は、新しい遺伝子治療薬へのアクセスが、アウトカムベースの合意によって改善されるかどうかの試験を2025年1月から2035年まで実施し、複数州合同で治療効果に応じた支払いを行う仕組みである。つまり米国において進展する VBP を基軸とした保険償還モデルは、遺伝子治療や細胞治療といった高額かつ効果の持続性に不確実性を伴う医薬品に対し、保険償還の概念そのものを再定義する。

このモデルが示す最大の特徴は、「規制当局による承認=即時かつ全額償還」という従来の前提を放棄し、医療価値の不確実性を制度設計の中に明示的に組み込んだ点にある。治療時点では暫定的な支払いにとどめ、長期的な有効性や医療費削減効果が確認されて初めて最終的な償還額が確定するという仕組みは、保険償還を単なる財政処理から「成果検証を伴う医療投資」へと転換するイメージとなる。

図表6：EHDS (European Health Data Space) 構想



※NCP : National Contact Point HDAB : Health Data Access Bodies

出所：次世代基盤政策研究所「EHDS規則の概要」

さらに米国では、メディケアおよびメディケイドにおいて、国際参照価格を活用する複数の価格モデルとして、GLOBE(Global Benchmark for Efficient Drug Pricing Model: メディケアPart B、医療機関投与薬:がん・免疫・希少疾患薬が中心)、GUARD(Guarding U.S. Medicare Against Rising Drug Costs Model: メディケアPart D、主に経口の高薬価薬、希少疾患薬を含む)、GENEROUS (GENERating cost Reductions fOR U.S. Medicaid Model: Medicaid州政府向け)が提案・開始されている。これらはいずれも名目価格(Wholesale Acquisition Cost: WAC)を直接引き下げる制度ではなく、リベートを通じて実効的なネット価格を圧縮する制度である。

重要なのは、米国がMFN薬価を一律に強制する方向に進んでいるのではなく、国際参照価格・リベート調整・ネット価格基準という構造の下で、制度横断的に実効価格を圧縮する枠組みをを拡張している点である。つまり米国薬価政策は、名目価格管理からネット価格管理へと重心を移していると言える。米国は「MFN薬価による名目価格、各プログラムによる実効価格」の両面で、段階的かつ構造的に低下する仕組みの構築に取り組み始めており、これらがどのように組み合わさるかによって、今後の保険償還の概念を刷新する可能性がある。

これらのプログラムによる価格導入の試みが、先に述べた成果連動型償還と並行して進むことで、保険償還の刷新は一層制度的な意味合いを帯びる。これらのモデルは、国際価格を参照した価格上限を設定することで、成果が確認された場合であっても国際的に過度な薬価形成を認めない枠組みであり、「成果が出れば高価格を無条件に容認する」という従来のイノベーション擁護論に一定の歯止めをかける役割を担う可能性がある。

これらの制度以外にも、試験的な制度も含め組み合わせることで、保険償還は「製品属性や希少性にに基づく価格決定」から、「実際に創出された医療価値と、それに伴うリスク分担の在り方に基づく条件付き支払い」へと再構成される。言い換えれば、保険償還はコスト抑制とイノベーション促進の対立を踏まえながら、成果に見合う限りにおいて支払いを制度的に正当化する新たな社会契約へと変化していくと捉える必要がある。結果、医薬品企業においては新薬創出のハードルに加え、収益ビジネスモデルの再考を迫られる形となる。この新たな収益ビジネスモデルを創出していくためには、データ連携を加速させ、新たな薬剤価値を示せるかどうかにかかってくる。日本では、2025年に「データ利活用制度の在り方に関する基本方針」が閣議決定され、EHDSを参照した国内版ヘルスデータ空間の設計が進む。しかし、RWDの標準化・同意管理・匿名加工技術の課題は依然として残る。2030年代には、医療データが国境を越えて利用されることが前提となり、企業の国際競争力はPatient Data Readiness(患者データ活用力)によって測られるようになるかもしれない。さらに言えば、医薬品企業にとっては、薬剤を提供するだけでなく、患者の生活データや行動変容を医療経済価値に変換し、それをどのように薬価に反映させられるかが重要になり、患者とともに医薬品企業が“価値共創者”へと変化していく時代になる。しかしながら、行動変容を促すような生活データなどを医薬品企業は持ち得ないという論調もある。医薬品企業に対する社会的要請は、単なる「薬剤の提供」から、「患者の生活と医療システム全体にどのような価値をもたらしたのか」を説明する段階へと移行しつつある。とりわけ高額化が進む先進的治療領域では、臨床試験で示される有効性・安全性のみならず、治療が患者の生活や行動をどのように変え、その結果として医療資源の利用や社会的コストにどのような影響を与えたのかが、価格の妥当性を問う上で重要な論点となってくる。

この文脈で注目されるのは、患者の生活データや行動変容を起点とした価値創出である。しかし現実には、医薬品企業自身が患者の生活データを直接保有しているケースはないとみられており、「データを持っていない以上、こうした価値を薬価に反映させることは困難である」という認識があるかもしれない。だが、この理解は必ずしも正確ではなく、問題の本質は、データの保有有無ではなく、患者の生活データを医療経済価値として検証可能な形に設計できているかにある。

まず注意すべき点は、生活データや行動変容そのものが、薬価評価における「直接的な価値」として認められるわけではないということである。医療経済評価や費用対効果評価において最終的に問われるのは、入院や増悪の回避、医療・介護資源利用の変化、患者のQOL／患者報告アウトカム(PRO)の改善、さらにはそれらを通じた質調整生存年(QALY)の増加といったアウトカムである。生活データは、それ自体が価値なのではなく、これらのアウトカムに至る因果経路を説明する中間変数として位置付けられるべきものとして再確認しておく。

したがって、医薬品企業が構築すべき価値ストーリーは、「薬剤の投与に加えて、一定の支援や介入が患者の行動を変え、その行動変容が臨床アウトカムや医療資源利用の改善につながり、結果として医療経済価値が創出される」という一貫した因果の連鎖である。この連鎖を示すことが、生活データや行動変容を医療経済価値に変換することに他ならない。実務的には、医薬品企業は既存のRWDを中核に据えることで、この因果連鎖を十分に立証することが可能である。実務的にはレセプトデータや電子カルテ、疾患レジストリは、入院、受診、医療費、疾患の進行や長期転帰といったアウトカムを把握するための基盤が必要である。また、PROを組み合わせることで、QOLや機能面での変化も定量的に捉えられる。これらのデータは、生活データそのものではないが、行動変容の「結果」が医療システムにどのように現れたかを示すには十分な情報を含んでいる。

今後は、服薬支援アプリやデジタル治療、在宅医療・介護サービスなど、外部パートナーが保有する生活関連データを連結することにより、行動変容の実態を補完することも可能であると考えられる。重要なのは、これらのデータを網羅的に集めるのではなく、医療経済評価や政策判断に耐え得る品質とガバナンスを備えた形で活用することである。

もっとも、生活データや行動変容を起点とした価値主張が説得力を持つためには、「その変化が本当に当該介入によって生じたのか」を医薬品企業は説明できなければならない。

**まとめ：構造変化の10年を超えて—「実装力」で競う医薬品産業へ—**

これら6つの潮流は、単独ではなく格子状に作用し、医薬品産業を再定義していくだろう。

高齢化と疾患構造の変化は需要構造を、財政制約と薬価統制は制度設計を、テクノロジーの進化は研究開発、特に臨床開発の運営構造を、地政学は供給の地理を、そして患者主権とデータ連携は価値評価の基軸を変える。

医薬品企業の10年後の競争優位は、薬剤を単発的に上市することが成功なのではなく、上記に述べた全ての内容を総合的に実装できる力によって決まっていく。

つまり、未来の医薬品企業が備えるべきは、今まで述べてきたJCAを前提としたエビデンス設計力、米国市場における流通・契約の透明性を担保する運営力、供給レジリエンスを経営指標化する能力、AIとRWEを統合し“時間価値”を経営に取り込む力、患者データを価値に変換する実装能力、その価値を薬価に反映させられるか、これらを統合した企業オペレーション力である(図表7)。

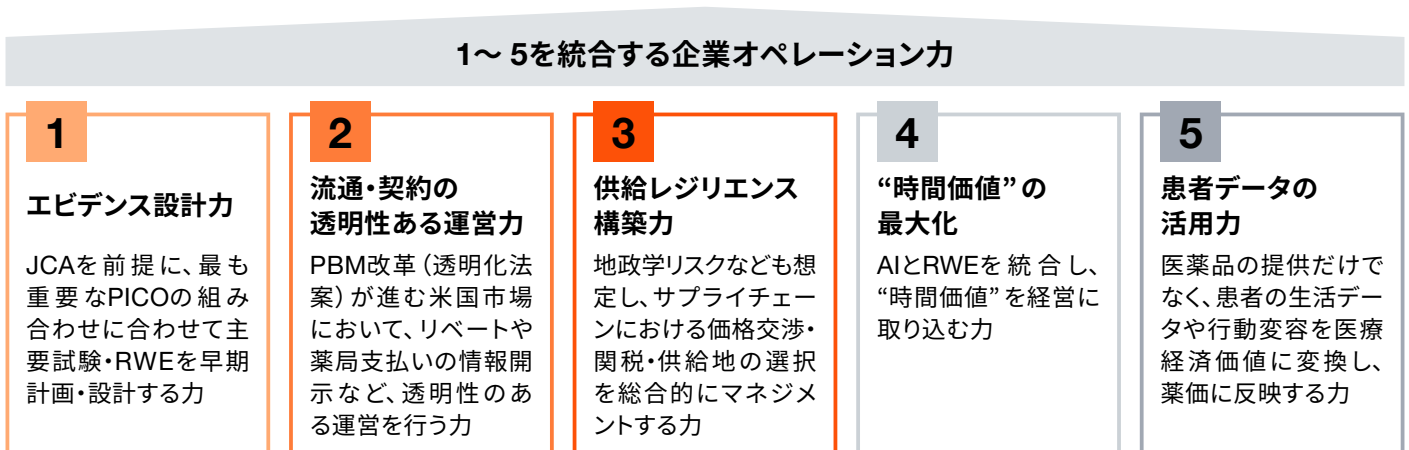
日本市場は「世界の高齢化の最前線」にある状況から、世界に先んじてこの複合課題を経験していくことになる。10年後、日本が世界に提示できるのは単なる薬剤技術だけでなく、社会的価値を支える医療モデルそのものであり、国の政策はもちろんのこと、マザーマーケットとして日本企業がどのように対応していくのかを経験することで、この数年は他国企業との競争における優位性を作れるか否かの瀬戸際になるだろう。

2035年に「勝ち残る企業」とは、新薬を上市するのみではなく、どの社会的価値を支えるかについて新薬を見据えながら市場設計できる企業である。

その設計力こそ、これからの医薬品企業に求められる“新しい競争力”である。

この章では時代の潮流を含めて整理し、その対応における示唆を提示した。次章では、日本企業が最も頭を悩ませていると思われる「日本市場をどのように位置付けるのか」の視点から深掘りを行いたい。

**図表7：未来に備えて医薬品企業が備えるべき能力**



## 日本医薬品事業の課題： 構造的な課題と処方箋

この章では、日本の医薬品市場における課題を国(財政)、企業、患者の3つの観点から整理する。課題の中でも、ここでは主に薬価政策に焦点を当てて論じていく。かつて、日本は国としての市場規模が大きかったことに加え、国民皆保険制度の下で薬価の保証や、経済の成長が医薬品企業の成長に寄与してきたことを忘れてはならない。

今、課題となっているのは「高齢化×医療費削減圧力×成長産業としての医薬品産業」の成果のズレである。成果のズレとは、高齢化で医療費が増え、財政側が抑制圧力を強めた結果、薬価算定が短期的な効果を優先しやすくなっていることである。薬価の予見性が下がり、医薬品の投資回収のシグナルが弱くなる。最終的に医薬品が生む中長期的な価値を薬価に反映させることが難しくなる。さらに日本の低薬価、頻繁な薬価の見直しもあり、日本企業は海外で収益を上げなければ成長シナリオが描けなくなった。今後、収益が得にくいマザーマーケットとして、日本企業が日本をどう位置付けるかについて、本社機能、人員配置を含めてさまざまな議論が起こっている。

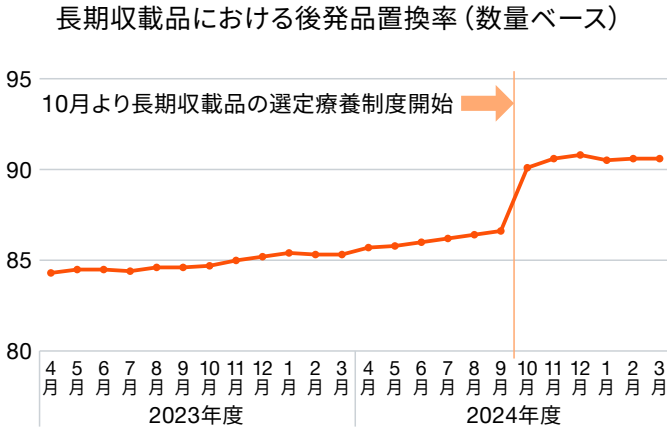
### 1. 各ステークホルダーの立場

#### (1) 財政：薬剤費を抑制する圧力が制度化されている

日本は既に世界的に見ても積極的に薬価を引き下げる国の1つとなっており、かつて2年に1回だった薬価改定は、現在では毎年行われるようになり、薬価の引き下げ要因として作用している。

高齢化により慢性疾患の投与期間は長くなるので、図表8に示すように長期収載品・後発品領域は「国の最優先コストカット対象」となり、右側では、さらなるコスト削減の前倒しに向けた議論が進んでいる。問題は、それが従来、日本企業の利益の源泉となっていたため(長期収載・生活習慣病薬など)、医薬品企業の研究開発費の原資を削ることになった点であり、各企業は多様なモダリティへの展開または成長戦略に乗れないまま研究開発の原資が減少する状況となった。

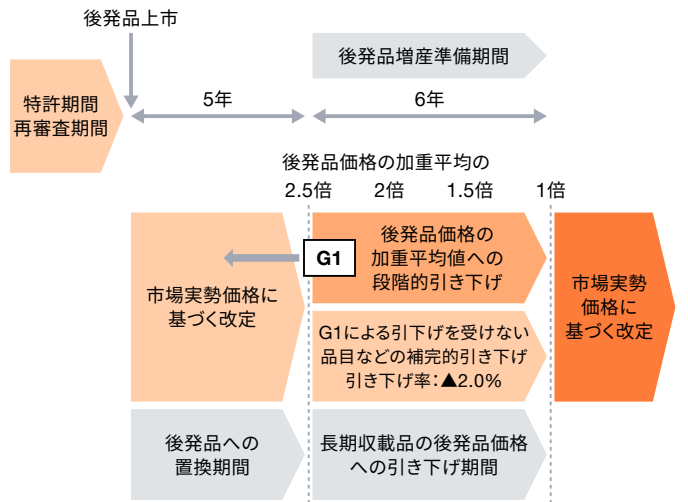
図表8：長期収載品薬価の動き



■選定療養制度

概要	長期収載品を希望する場合、後発品の最高価格帯との価格差の4分の3までを保険給付。差額の4分の1相当分は患者負担
対象品目の範囲	(1) 後発医薬品収載後5年を経過した品目 (2) 5年未満でも、後発品への置換率が50%以上に達している品目
適用除外	(1) 医療上の必要性があると認められる場合 (2) 後発医薬品を提供することが困難な場合

長期収載品のさらなる薬価適正化に向けた施策 (議論中)



- 長期収載品の段階的な価格引下げ (G1) は後発品上市の5年後から適用 (G1を後発品上市後5年に前倒し、G2、Z2は廃止)
- 後発品置換率が80%以上となった場合は、その後の薬価改定時に置換率が80%以上となっていることを再度確認した上で、G1ルールを前倒して適用

出所：厚生労働省「薬剤給付の在り方について—長期収載品・先行バイオ医薬品・OTC類似薬—(2025.11)」からPwC作成

(2) 患者側：必要な薬にアクセスしたいという要求

がんや希少疾患、神経疾患などの分野では、高額な医薬品が治療の中心となるケースが増えている。こうした状況下で、患者にとって最も重要なのは「どの国で、より高価な薬が存在するか」ではなく、「自分が必要とする薬に、いつ・確実に到達できるか」という体験そのものである。

日本の国民皆保険制度の下では、承認され、薬価収載された医薬品については、患者の居住地や所得水準にかかわらず、比較的迅速かつ全国一律に使用可能となる。患者の視点から見れば、治療選択肢が制度上“解放”されており、「医師が必要と判断した薬に基本的には到達できる」という予見可能性が高い。この点は、高額薬剤が増加する現在においても、患者の治療への安心感を支えてきた重要な要素である。

一方、欧米、特に米国では、医薬品の承認スピードや革新的治療への到達可能性は高いものの、患者体験はより不確実性を伴う。米国では、薬剤が市場に存在していても、保険プラン、薬剤給付管理、事前承認(Prior Authorization)、自己負担額、給付上限といった複数の関門を通過しなければ実際の治療に至らない場合が多い。結果として、同じ疾患であっても「保険内容や経済状況によって、使える薬が異なる」という体験が生じやすく、患者は治療判断と同時に、費用負担や保険交渉という非医療的な意思決定を迫られる。言い換えると、他国の医療政策における「待機の長期化(英国)」「価格の分断(ドイツ)」「高コストと無保険(米国)」という課題を、日本は制度設計レベルで回避してきた点に、国際的な優位性があると言えるだろう。

この対比から見えてくるのは、日本の医療制度における患者体験の本質的な価値である。それは、薬価水準の高低ではなく、「高額であっても、治療上必要と判断された医薬品が患者の属性に左右されずに実装される確実性」にある。欧米、とりわけ米国が「最先端治療への到達可能性は高いが、患者体験のばらつきが大きい」制度であるのに対し、日本は「到達の予見可能性と公平性」を患者価値として提供してきたと言える。

今後、高額薬の増加や財政制約が強まる中で、この患者体験上の強みをどこまで維持できるのか、また制度設計の見直しが患者の治療選択にどのような影響を及ぼすのかを、患者視点から検証していくことが不可欠となる。加えて日本の薬価は他国と比較すれば安く見えるが、承認され薬価収載されれば流通アクセスは迅速であるという特徴を持っている。この特徴をどのように評価するかについても重要なポイントである。

### (3) 企業側：グローバル競争の現実

日本企業が長年にわたり研究開発投資を行い、新薬を創出した後に十分な投資回収と次世代への再投資を行うためには、日本国内市場だけでは需要規模・収益規模の両面で限界がある。このため、上市した医薬品の価値を最大限に発揮するには、日本国外の市場に展開せざるを得ないという構造的要請が、医薬品企業のグローバル化を強く後押ししてきた。

近年、日本企業の中にも自社販売網を構築し、海外市場で直接販売を行う企業は増加している。しかし現実には、多くの企業は依然として、海外市場からの主たる収益源を導出によるロイヤルティ収入に依存しており、その収益を国内の研究開発や供給体制の維持に充てている。これは、単なる経営判断というよりも、グローバル市場で自立的に競争するための規模と収益構造を単独で確立することが容易ではないという構造的制約の表れである。

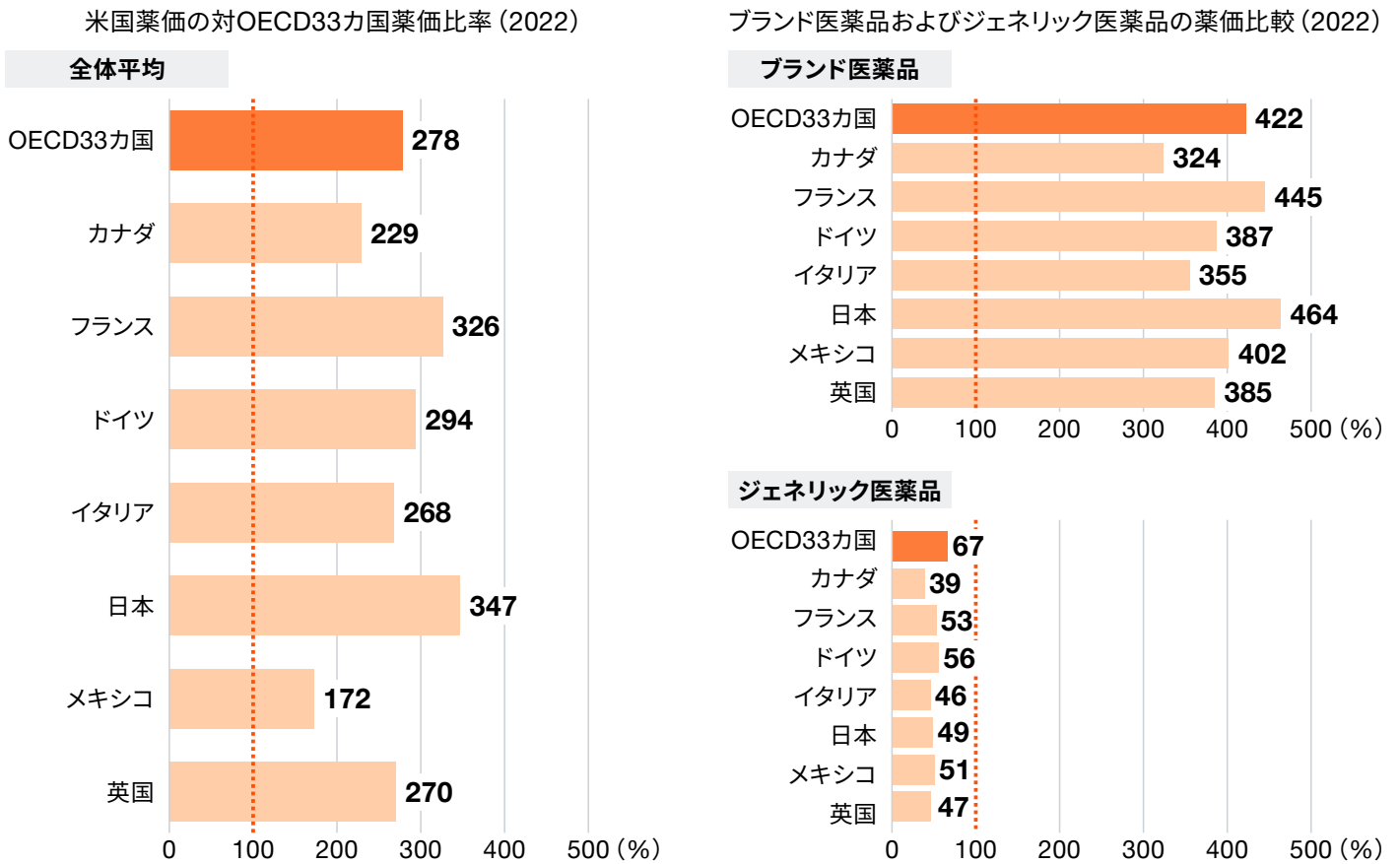
一方、欧米のメガファーマは、「高薬価×巨大市場×グローバル同時承認」というモデルを前提に、単一製品であっても世界規模で売上を最大化し、巨額のR&Dコストを回収する規模の経済を実現している。この結果、研究開発投資、追加適応の取得、次世代モダリティへの再投資が連鎖的に可能となり、競争優位が自己強化的に拡大する構造が形成されている。企業としては、患者数や薬価水準が大きく異なる各国市場の環境下で事業を展開せざるを得ない。

もっとも、現在の日本市場は、患者アクセスの公平性という観点では高い価値を持つ。上市時の薬価は各欧州国薬価に見劣りすることはないが、経年的に引き下げること、他国または企業から相対的に価格が低くなり問題視されていることには留意が必要であり、グローバル全体での投資回収を担う市場としての位置付けが困難になりつつある。

図表9のASPE (Assistant Secretary of Health and Human Services for Planning and Evaluation) の分析によれば、米国の医薬品価格はOECD平均比で約278%、ブランド医薬品では400%超とされており、米国市場がグローバル製薬企業にとってR&D回収の中核となっている実態が示されている。こうした価格構造の差異は、企業の開発優先順位や上市国戦略に直接的な影響を及ぼす(ここで言う「価格」はリベートや割引などを控除した「実質的な払出し価格」ではない点に注意)。

図表9：米国薬価の国際比較

HHS報告書によると米国薬価はOECD全体平均比で278%、特にブランド医薬品では422%に達する高水準



出所：ASPE “Comparing Prescription Drugs in the U.S. and Other Countries: Prices and Availability” (2024)よりPwC作成

この結果として、多くのグローバル企業にとって、日本市場は「患者アクセスは良いが、価格リスクを内包する市場」として位置付けられ、限られた研究開発資源の配分や上市タイミングの優先順位づけにおいて、相対的に後順位となる傾向が生じやすくなる。これは個々の企業の姿勢の問題ではなく、市場規模、薬価水準、投資回収構造、そして最近の米国のMFN薬価などの外部的要因による構造的帰結である。

先に述べたように、薬価は、国の立場では社会保障費として抑制すべき対象であり、企業にとっては研究開発投資を支える源泉であり、国民にとっては必要な薬へのアクセスを確保しつつ負担増は避けたいという三者の要請が同時に存在している。その中で日本企業は、単独で欧米メガファーマと同等の規模のビジネスを国内外で実現することが困難な環境に置かれている。研究開発効率の改善や個社努力だけでは、グローバル競争力の格差を埋めるには限界があると言える。

この三者の要請に応えるのは難しい面もあるが、他国の取り組みや米国のMFN薬価などを踏まえると、単一公的薬価にメスを入れることが1つの道筋になるのではないだろうか。参考までに現状の各国の薬価設定について図表10に示しておく。

図表10：各国の薬価設定一覽

薬価設定要素	日本	米国	EU	中国
価格決定方式	全国一律の公定価格(中央社会保険医療協議会が決定)	市場ベース(企業・保険者間の交渉)	公的保険+国際価格参照(ERP) ※ERPを用いない国もあり	国家医療保障局(NHSA)が一元管理
改定頻度	毎年(本改定+中間年改定)	政策的な価格抑制策(IRAなど)により変動	多くの国で2~3年ごと	毎年。国家償還医薬品リスト(NRDL)記載交渉
改定の仕組み	実勢価格調査に基づく引き下げ。2025年から累積加算控除も導入	IRA(インフレ抑制法)、MFN政策(予定)などで価格抑制	ERP、数量協定、医療技術評価(HTA)、市場実勢価格調整に基づく価格再算定	形式審査+価格交渉+現場交渉の多段階プロセス
価格下落のスピード	平均5~7%/年。中間改定で特許期間中でも加速	政策次第で変動。ジェネリック参入後に急落	ERPにより他国価格に連動。HTAで価格維持も可能	NRDL交渉で価格が大幅に下がるケースあり
イノベーションへの影響	特許期間中でも価格下落→投資インセンティブ低下 2024年の改革で、新薬創出加算拡充などにより特許期間中の価格維持を強化	高価格維持は可能だが、近年は抑制傾向	有用性評価(ASMRなど)で高価格維持可能	高価格維持は困難。交渉力が鍵
ステークホルダーの立場	財務省:抑制推進 厚労省:慎重姿勢 経産省:産業保護 医療現場:負担増懸念	民間保険者・ICERなどが価格に影響	各国政府・HTA機関が主導	NHSAが主導。企業は交渉力が重要

出所：PwC作成



## 2. 日本の医薬品産業はどうすべきか(薬価を中心とした企業側の課題とアクション)

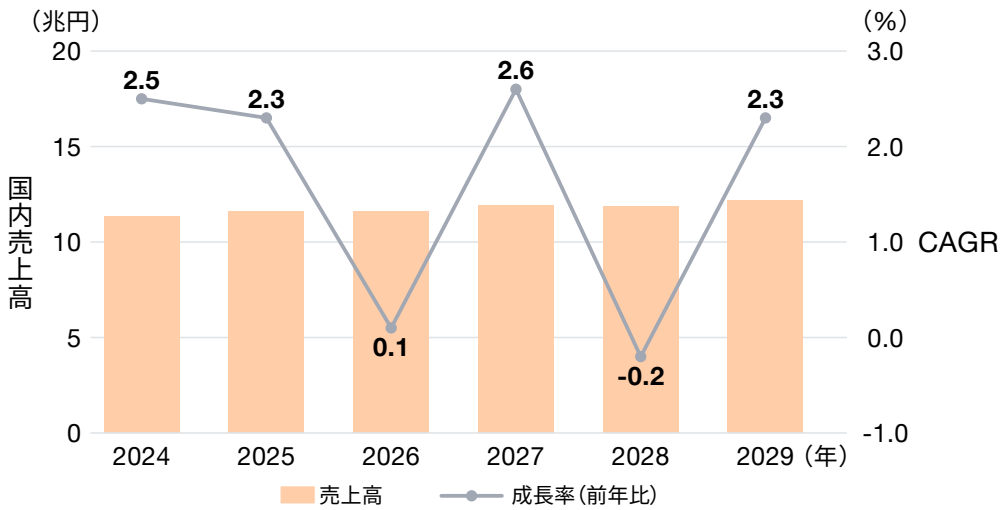
単に「薬価を守る・上げる」と言っても、国には財政余力がないという議論がずっと続いている。税収が伸びたとしても社会保障ばかりに予算を振り分けるわけにはいかない。そのため医薬品企業側も、要求ばかりではなく、主張転換についても検討する必要がある。特に日本企業にとって重要なのは次の5つである。

### (1) グローバル化

現状、日本の大手医薬品企業の海外売上高比率の推移は図9に示すように国内医薬品市場の低迷を受けて年々高まっている。

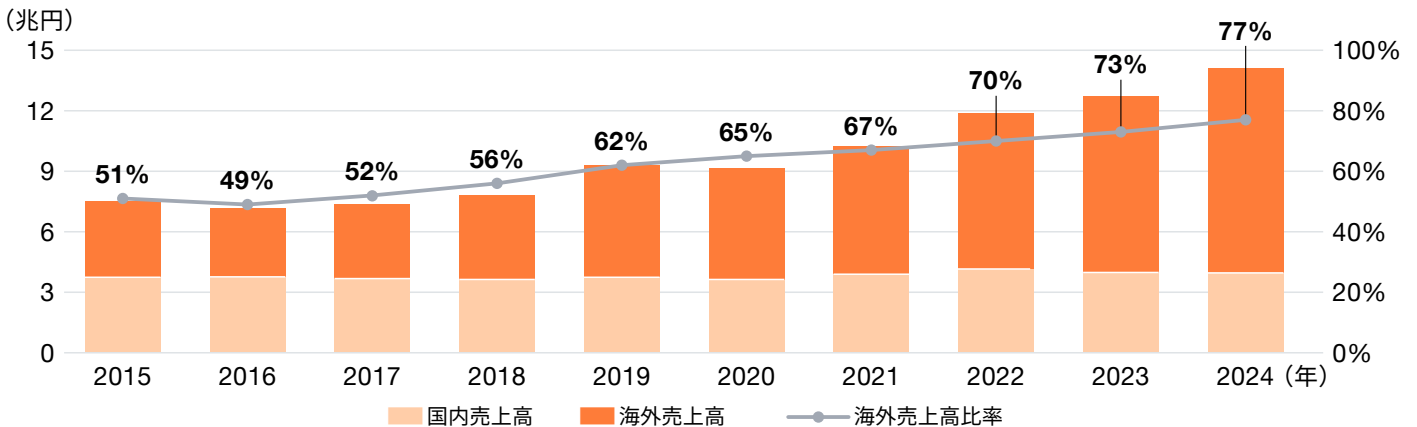
図表11：日本医薬品市場海外売上高比率の推移

日本における薬価収載品の2024～2029年成長予測 (2024～2029年 CAGR: 1.4%)



- 国内医薬品市場低迷を受け、日本の大手医薬品企業は海外展開を加速。複数企業では米国/北米市場が売上高の4～5割まで拡大
- 今後、①グローバル、特に米国・EU・中国などで稼げる筋道(導出、自販、共同販促など複線化されたアクセスモデル)の設計力、②価格だけではなく「価値・アウトカム」の交渉力の重要性が増大

日本の大手医薬品企業の連結売上高合計と海外売上高比率の推移



日本の医薬品企業の2024年度売上高上位10社のうち、非上場の1社を除く9社の数値を集計

日本国内でも生活習慣病薬、軽症領域(OTC類似薬も含む)医薬品は、医療費抑制を政策目的とする薬価制度の運用のもと、相対的に価格調整の対象となりやすいカテゴリーに位置付けられている。特にOTC類似薬を多く扱っている医薬品メーカーは、製品が保険償還から外される可能性があり、ビジネスモデルの根本的な転換を迫られることになる。

こうした環境を背景に、企業は日本市場単独での売上拡大を前提とした成長モデルを見直し、なかでも日本の上位企業は、海外市場を視野に入れた事業構造の転換を進めてきた。

しかし、日本企業がグローバル化を進める過程で必ず直面する構造的課題がある。それは、多くの企業が日本国内に本社機能を集中させている結果、人件費、設備費、間接費が高止まりしやすく、実際に収益を獲得する主要市場(とりわけ米国と欧州)と、本社オペレーションが置かれている日本との間に「市場距離」と「人員配置のギャップ」が生じている点である。このギャップは、費用対効果の観点からは合理性を欠くケースを生みやすい。

したがって、こうした構造的負荷を固定的に抱え込むのではなく、事業環境の変化を前提として、計画的に縮小あるいは再配置が可能な組織・オペレーション構造へとリフォームしていくことを、経営課題として正面から位置付けることが重要である。実際、日本企業の一部では、グローバル化の基盤整備としてグローバル人事制度の構築に着手するとともに、AIを組み込んだ新たなオペレーションモデルを通じて、生産性そのものを引き上げる取り組みが検討され始めている。

将来を見据えたグローバルオペレーティングモデルがどうあるべきかについては、現時点で確立された正解が存在するわけではなく、各社が試行錯誤を重ねながら模索している段階にある。ただし、構造改革におけるオペレーションモデルの変更は、かつてのように特許切れを契機とした短期的なリストラを中心とする「単なるコストカット」ではなく、「どこを伸ばし、何をやめるのか」という選択と集中の優先順位を戦略的に設計し、それを社内で明確に言語化しながら進めていく局面へと移行している。

その延長線上では、業界再編も本来避けて通れない論点である。しかし現実には、明確な競争優位を有する研究プラットフォームや、将来性の高いパイプラインを保有する企業が国内に見当たらないとの認識が広く共有されており、「現時点では国内再編による戦略的メリットは乏しい」と判断する企業が多数を占めていると思われる。その結果、必要性は理解されつつも、実際には動くに動けないという状況が続いているというのが率直な感想ではないだろうか。

**(2) R&Dの焦点を“高薬価・希少疾患”領域に寄せるだけでは不十分**

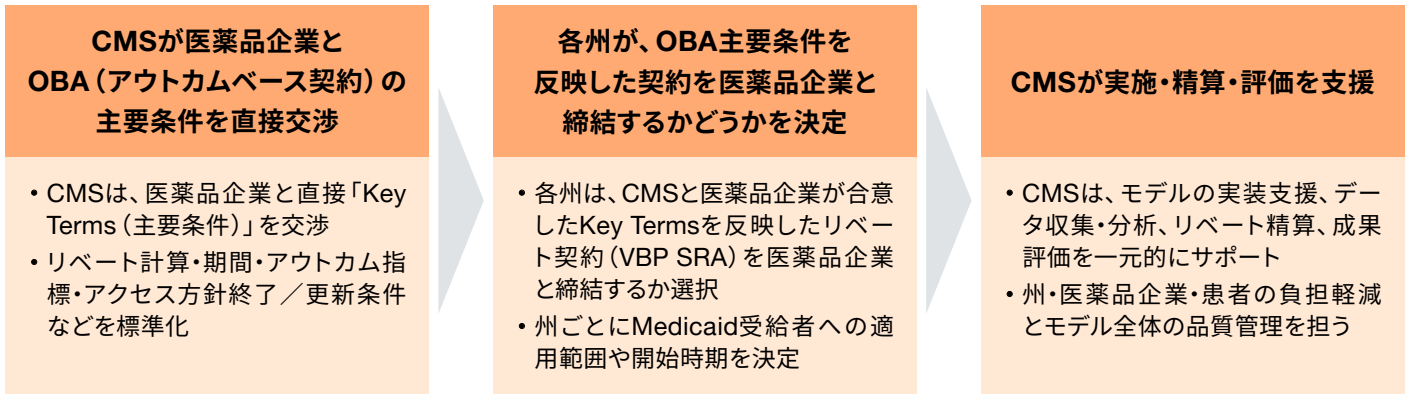
新薬開発型の企業行動として、オンコロジー、希少疾患、スペシャリティの各領域は高薬価が取れるという選択を行い、主に米国市場の高薬価政策において投資回収する動きが多いのではないだろうか。しかし世界的には、そういう領域こそ薬価交渉のターゲットになりつつある<sup>21</sup>。米国でも欧州でも「本当にその価格が適正か」と問われるのは高薬価医薬品である。トランプ政権で推進されている薬価政策でも示されているように、今後、さらに希少疾患高薬価医薬品に対象が広がり、その影響が強くなる恐れがある。図表12のように、米国CMS主導による革新的治療アクセスモデルによって成果連動型の支払い制度を高薬価医薬品に適用し、患者アクセスと医療財政の両立を目指す取り組みも始まっている。つまり単価が高い領域ほど、支払者(公的保険・政府)が価格形成に介入する“制度的な導線”が強くなり、高額であるほど成果(アウトカム)にひも付く支払い条件が標準化していくことから「希少疾患＝高薬価＝ニッチで安定」ではないということである。

**図表12：米国CMS主導による革新的治療アクセスモデル：CGT Access Model**

**1. モデル概要 (目的・特徴)**

- 高額な細胞・遺伝子治療薬 (CGT) へのアクセス向上
- CMS主導のアウトカムベース契約。治療効果 (症状改善・入院回避など) の達成度に応じて薬剤費を支払う仕組み

**2. 支払い・契約の流れ**



出所：Centers for Medicare & Medicaid Services (2025.7)

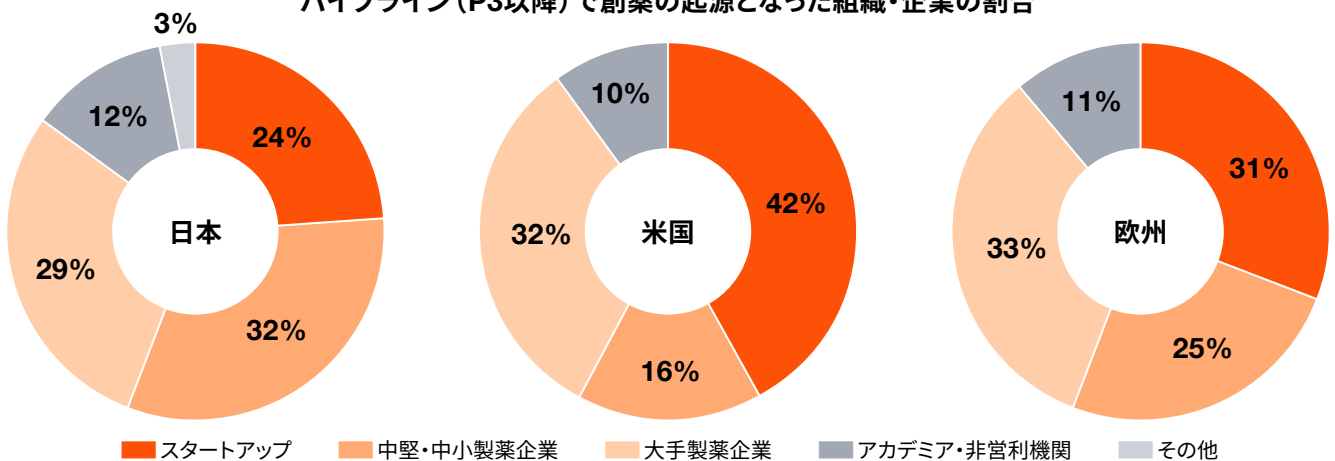
企業としては、高薬価製品ポートフォリオが内包する価格リスク、すなわち各国での薬価引き下げ・参照価格・成果連動型支払いといった政策介入が同時多発的に発動するシナリオを前提に、収益源を単一の高額製品や特定モダリティに過度に依存しない構造を構築することが重要である。とりわけ、希少疾患(希少がんを含む)領域は、患者数が限定的である一方、高いアンメットニーズと明確な臨床ベネフィットを根拠に、単価の高い価格設定が可能であり、かつ世界市場を対象に患者を積み上げることで売上規模を形成できるという特徴を持つ。加えて、販売・マーケティング規模が比較的コンパクトで済むことから、オペレーション効率の面でも、規模の小さい新薬開発型企业にとって取り組みやすい領域とされてきた。

しかし、このモデルは、少数製品・少数モダリティへの依存度が高まりやすく、価格政策変更が直撃した場合の収益変動リスクが極めて大きいという構造的弱点を抱える。したがって企業は、まず自社の収益ストーリーを見直し、将来キャッシュフローの安定性と耐久性を、投資家および格付機関に対して合理的に説明できる状態に整える必要がある。その方向性は、「希少疾患×高単価×グローバル患者積み上げ」による単線的な成長モデルから、複数の確度が高い価値提供モデル(価格帯・モダリティ・地域・支払い方式の異なる収益源)を組み合わせたポートフォリオ型経営への進化である。まずは収益ストーリーを見直し、キャッシュフローの安定化を対外的に説明できるようにすることが必要になる。参考までに図表13に創薬ポートフォリオ戦略の日本・米国・欧州の違いを整理し、日本企業の特徴を示した。

図表13：各国のポートフォリオマネジメントの違い

日本	米国	欧州
<ul style="list-style-type: none"> <li>既存領域の強化、拡張が中心</li> <li>新規領域進出は慎重</li> <li>自社創薬比率が高い</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新規領域・革新技术への積極投資</li> <li>外部導入・M&amp;A活用が多い</li> <li>バイオ・デジタル領域に強み</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新規領域・社会課題対応(希少疾患・ワクチンなど)</li> <li>外部連携・オープンイノベーション重視</li> <li>バイオ・ワクチン・セル治療など多様化</li> </ul>

パイプライン(P3以降)で創薬の起源となった組織・企業の割合



出所：JST研究開発戦略センター(CRDS)「創薬のオープンイノベーションの潮流」

特に日本の準大手医薬品企業においては、自社創薬への強いこだわりが依然として見られる。この背景には、日本特有の産業構造と組織文化がある。

まず、日本は米国と比較して創薬スタートアップの数や資金規模が小さく、外部から導入可能な有望アセットの母数が限定的である。加えて近年は創薬シーズ価格の高騰と円安が重なり、欧米企業に買い負けるケースも少なくない。

自社創薬中心型では、外部イノベーション活用によるR&D生産性向上の効果を十分に享受できておらず、導入からの上市、自社創薬での上市の比率を比較してみると導入品からの上市成功確率が高いと言われる報告もある<sup>22</sup>。特に、日本企業は研究所を中核とした垂直統合型モデルを長年維持してきた。自社創薬による上市は組織的成功体験として蓄積される一方、導入品が期待売上に届かない場合には意思決定の責任論が生じやすい。こうした要因も、自社創薬志向を補強している可能性がある。

論点は、1品ごとの「自社か導入か」という二項対立ではなく、製品ポートフォリオを充実させる点であり、特に日本準大手企業の課題は、オープンイノベーションを資本配分に加え、より高度化できるかである。

### (3) 海外で展開することを前提にした医薬品企業の位置付けを考える

まずグローバル、特に米国、EUなどで収益が得られる筋道(導出、自販、共同販促など複線化されたアクセスモデル)を設計し、その事業から得たキャッシュで日本においても安定供給責任を果たすというロジックをステークホルダーに説明できるようにすることが必要である。もちろん各企業で違いはあるが、「内需を守るために国から守ってもらう産業」から「外で稼いで、国内の安定供給力・製造拠点・治験基盤を維持する産業」への変化である。言い換えると、「医薬品産業=外貨を稼ぐ輸出産業」として政策側に扱ってもらうための準備に、医薬品企業自身がまず取り組むべきである。

次にそれを踏まえ国内重視の国民皆保険の中でのグローバル市場の動向を反映した薬価制度設計を考えなければならないだろう。例えば、米国のMFN薬価政策において、日本国内の低い薬価設定が問題であるという事例を考える。まずは日本国内の薬価を高く設定してもらい、代わりに企業が国内医療アクセスにかかるコストを一定の割合で収益を上げた企業から国・自治体へ逆償還していくなど、薬価を低くしてアクセスを守るといった単線の発想から脱却すべきだ。公定薬価は国際参照に耐える水準を確保しつつ、国内の負担は拠出金・MEAs (Managed Entry Agreements)で支える。そのうえで、新薬は早期に保険償還へ組み入れる一方で、財政リスクや臨床的不確実性は「条件付き」で管理する契約スキームにしていくなど、主に高額薬・革新的新薬・上市時点でエビデンスが限定的な医薬品・患者負担策も組み合わせる。すなわち、「価格で抑える」のではなく、「契約と条件で管理する」制度へ転換する対策を講じていくことになるのではないかと考える。さまざまな観点で考察していかなければ、現在の医療制度自体ではドラッグロスが増加し、結果として日本市場における医薬品アクセスが難しくなる可能性が大きい。

外部環境要因として米国のMFN薬価が本格的に運用された場合、高薬価政策にかじを切らなければ、将来的に低薬価国である日本市場で薬剤を上市することがリスクとなる。主として国際価格参照(MFN薬価)を通じて、日本の低薬価がグローバルの価格形成に波及し、企業の世界全体の収益性を毀損するリスクを指す。つまり日本の公定薬価は参照価格の一部として直接・間接に用いられる可能性が高く、日本において低薬価で上市した事実そのものが、米国市場における償還価格やネット価格の引き下げ圧力として跳ね返る構造となる。

この結果、医薬品企業にとっては、以下の事態が想定される。

1. 日本で先行上市・低価格収載を行うほど、米国を含む最大市場での収益が減少する
2. グローバル全体でのROIが不透明化し、R&D投資判断において日本上市がマイナス要因として評価される
3. 価格参照リスクを回避するため、日本市場への上市を意図的に遅らせる、もしくは上市自体を見送る合理的インセンティブが生じる

日本市場は「収益を生む市場」ではなく、「グローバル価格を下方に固定してしまうリスク市場」として位置付けられかねず、これがドラッグロスやドラッグラグを構造的に助長する要因となり得る。日本では一定期間以上の投資回収が見込まれた後でなければ上市されない、あるいは世界的には標準治療となった医薬品が日本では利用できないといった状況が顕在化する可能性が高い。

#### (4) 価格だけではなく「価値・アウトカム」で交渉できる力を持つ

価格だけでなく価値・アウトカムで交渉できる力を持つことは、今後の医薬品企業にとって中核能力になる。国にとって重要なのは単に薬価を下げるのではなく、限られた財源の下で「支払っている薬剤費に見合う成果が得られているか」を説明可能にすることである。この観点は、費用対効果評価の制度化に象徴されるように、支払いの妥当性を“価値”で正当化する方向へ確実に重心が移りつつある。つまり医薬品企業が、疾患マネジメント全体で医療費をどう削減し、入院日数をどれだけ減らし、介護コスト(要介護化の遅延など)をどれだけ抑えるかを定量で示せるなら、国は薬価単価ではなくアウトカムで償還する方向へ徐々にシフトし、トータルの医療費コストを削減したいと考えるのが本来の姿であろう。現状ではアウトカムベースの支払い方式を国民皆保険に導入する難しさはあると思われるが、以前から議論されている混合診療や民間保険との組み合わせなどを考察することは可能であろう。現在、混合診療が原則禁止であり、例外として保険外併用療養費制度(評価療養・患者申出療養・選定療養など)により併用を認めるという制度前提を踏まえた設計論が必要になる。

また医薬品の価値評価や費用対効果を重視する国際的な潮流に対し、日本独自の制度設計や運用の遅れに加え、価格引き下げに焦点が当たっていることも課題の1つではないかと感じている。各国医療政策の違いがあることを前提に、参考までに治療成果に基づく支払いモデルの動向について図表14に整理しておく。

図表14：各国の「治療成果(アウトカム)」に基づく支払いモデル動向

国	施策名・制度	運営主体	支払い基準(アウトカム)	代表的な事例・薬剤	実施状況・特徴
米国	Value-Based Programs (VBP)	CMS(連邦政府)	医療の質・成果・コスト・公平性	医療機関・医師の報酬を患者アウトカム(死亡率、再入院率など)に連動	全米で拡大中。医療機関・保険者が参加
	Cell and Gene Therapy Access Model	CMS+州政府+メーカー	治療効果(症状改善・入院回避など)	細胞・遺伝子治療薬	2025年から複数州合同で本格運用開始。高額な細胞・遺伝子治療薬の成果連動型支払い
	Accelerating Clinical Evidence (ACE) Model	CMS	臨床的有効性の進捗	がん領域の迅速承認薬	開発中。FDA迅速承認薬の臨床的有効性の進捗で報酬調整。がん領域中心
	Outcomes-Based Agreement (OBA) / Value-Based Agreement (VBA)	保険者+メーカー	患者アウトカム(症状・入院など)	細胞・遺伝子治療薬	細胞・遺伝子治療薬(CGT)24品目中11品目で導入(2025年時点)。症状改善・入院回避などアウトカム連動
EU	EU Joint Clinical Assessment (JCA)	EC(欧州委員会)+EMA(欧州医薬品庁)	臨床的価値(PICO設計)	ATMP(先進医療製品)、がん治療薬、希少疾患薬	2025年から段階導入。がん治療薬・ATMPから開始。EU全体で臨床的価値を共同評価
	EU Pharma package	EC(欧州委員会)	安全・有効・価格・供給安定性	全新薬、ジェネリック、抗菌薬など	2023年に改正案提出、2025年に12月暫定合意が成立。供給義務・独占期間見直し・環境規制強化など
日本	薬価算定+再算定	厚労省+中医協	薬価単価(市場実勢・臨床価値)	—	現状は薬価単価中心。成果連動型支払いは、健康増進・服薬指導・検診事業などが中心

出所：PwC作成

他国では公的保険と民間保険が組み合わさる構造のもとで、成果連動型契約が実装されている。しかし、日本の制度は公的単一支払者モデルに近く、混合診療制限も存在するため、同様の枠組みをそのまま考察することは現行制度上難しい。

それでもなお示唆的なのは、「価格を一律に決定する」のではなく、「価値の実現度に応じて支払いを調整する」という考え方そのものである。日本においても、公的保険の範囲内で成果連動的な再評価や条件付き償還の高度化を図ることで、財政規律とアクセス確保を両立させる制度設計が求められる局面に入りつつある。ちなみに心不全治療薬では、米国保険会社と成果連動型契約を締結し、患者が期待される臨床アウトカム(心不全再入院率低下など)を達成できなければ、医薬品企業が保険者にリポートを提供する。また高コレステロール治療薬でも成果連動型契約を締結し、治療を順守している患者が心筋梗塞や脳卒中を起こした場合、医薬品企業がリポートを支払う。同様に関節リウマチ薬でも保険会社と成果連動型契約を締結し、治療効果が期待値を下回った場合、薬価調整やリポートを実施するなどのケースが存在する。

こうした事例は、企業にとっても「高いけど価値がある薬」という高薬価正当性を確保する盾となる。

これは1つの仮説であるが、ある薬剤については米国だけの償還価格を決め、形式上、自由価格として世界での統一価格戦略を打ち出す動きが出てくるかもしれない。これにはRWE、地域医療・介護データ連携、患者アウトカム測定を“薬価交渉用アセット”として活用できることが前提であるが、データ活用において企業の重要な戦略となり、これまでのマーケティングによる各国での上市支援とは一線を画した企業の生存戦略の根幹となる可能性がある。

### (5) サプライチェーン・製造拠点を「安全保障インフラ」として位置付ける

国は、企業側が採算割れを理由に供給できないとしても「薬が突然なくなる」ことを容認できるだろうか。ここが国と企業の交渉のカードになるかもしれない。

医薬品のサプライチェーンと国内製造拠点は、もはや企業のオペレーション課題にとどまらず、国の医療レジリエンスを左右する“安全保障インフラ”として再定義されつつある。実際、経済安全保障推進法の枠組みでは、抗菌性物質製剤が特定重要物資に指定され、事業者が供給確保計画の認定を受けることで、βラクタム系抗菌薬などの原薬製造・備蓄体制の整備に対する支援を受け得る制度が運用されている。

ここで重要なのは、単なる補助金要請ではなく、国の安定供給・危機対応力の強化と、企業の採算性・投資回収の見通しを制度的にリンクさせる“医薬版・経済安全保障ディール”として設計することである。国は海外依存(とりわけ特定国依存)が高い領域に対して、原薬などの国内製造設備(発酵・精製などを含む)や備蓄設備の構築を支援し、供給途絶時にも必要薬剤を切れ目なく供給できる体制を目指している。

もっとも、このアプローチを全医薬品に一律適用するのは現実的ではない。したがって、医療上の必要性と供給途絶リスクが高い品目群を特定し、(1)国内製造・品質保証ライン維持のコミットメント、(2)一定の調達条件・税制・支援措置、(3)成果指標(供給安定・有事対応能力)をパッケージ化して、国と共同で制度設計を進める必要がある。加えて、海外市場で稼ぐ力を高める産業政策と整合させることで、国内供給責任と国際競争力を両立する道筋を描くべきである。

## 3. 「薬価政策」を医療費抑制から国家戦略へ引き上げるために

日本の医薬品政策は、長らく「薬価引き下げ=医療費抑制」という単線的なロジックの上に構築されてきた。しかし、その帰結として露呈したのは、供給不安、開発投資の停滞、産業競争力の低下である。COVID-19の世界的流行時の原薬・製剤不足、ジェネリック供給不安、感染症薬・ワクチンにおける投資回収困難といった事象は、いずれも偶発的な問題ではなく、制度設計の帰結であったと捉えるべきではないだろうか。

医薬品は、平時には研究開発と知的財産を通じて成長と雇用を生み、有事には国民の生命を支える即応資産として機能する。すなわち、医薬品産業は「社会保障費の支払い先」ではなく、成長産業であり、同時に経済安全保障インフラでもある。この前提に立たない限り、薬価政策は常に短期最適の価格抑制に働き、長期リスクを内包し続けることになる。

以下では、薬価の観点から国が講じるべき政策対応を3つの軸で整理する。

### (1)「どの薬価を、どこまで守るのか」を領域別に明示する

#### —薬価の“レーン分離”による制度の再設計—

薬価を一律に抑制することも、一律に保護することも、もはや現実的ではない。国がまず行うべきは、薬剤の社会的役割に応じて薬価政策を明確に分離することである。

#### 第一のレーン：社会的基盤薬(供給安全保障レーン)

抗菌薬、救急医療で不可欠な薬剤、代替性のない基礎的医薬品などは、価格競争に委ねるべき領域ではない。抗菌薬などについては、経済安全保障推進法の枠組みに基づき特定重要物資として指定し、供給確保計画の認定を通じて国内製造・備蓄などを支援する制度が既に動き始めている。こうした「供給責任と支援・調達条件をセットで設計する」考え方を、供給途絶リスクの高い領域に拡張することが重要である。これらについては、安定供給義務を条件に、一定の価格下支えや国内・準国内生産維持をインセンティブ化する必要がある。供給責任と価格保証をセットで設計しなければ、事業継続性そのものが揺らぎ、結果として国民がリスクにさらされる可能性が高まる。

#### 第二のレーン：先端技術薬・希少疾患薬(価値評価レーン)

先端技術薬・希少疾患薬については、費用対効果評価などの価値評価を踏まえ、早期導入と事後の価値検証(追加エビデンス提出など)を組み合わせる制度設計を「将来の基本型」として提案すべきである。日本では費用対効果評価が2019年から本格運用され、価格調整に用いられているが、アウトカム連動型の運用は限定的であり、制度の厚みを持たせる余地が大きい。その上で、保険償還を選択するか、現時点では禁止されているが民間保険と組んで自由薬価とするかは、企業の戦略判断に委ねる。

将来的にこうした仕組みは、民間医療保険市場に新たな役割を与えるという点でも前向きに評価できるのではないだろうか。

#### 第三のレーン：汎用薬・生活習慣病薬(徹底競争レーン)

大量処方される薬剤については、後発品置換と競争を通じて徹底的にコスト効率を追求する。この領域こそ、医療費抑制の主戦場である。

これらはあくまでも例であるが、さまざまなレーンを明示することで、企業側も「どのレーンで国と交渉するのか」を戦略的に定義できる。現状でも一定の薬価を決める際の計算式として薬価推定はできるが、国と企業との考え方にギャップがあるケースが大多数を占めており、この部分は不透明である。加えて一度価格が決まれば、その後は実勢価格に沿って引き下げられていくため、インフレが進む現状では、物価上昇に現制度では迅速に対応できないなどの課題を多く抱えており、これらを含めての再設計となる。

## (2) 薬価の定義を変える—「コスト」から「社会コスト最適化」へ—

薬価を単なる支出項目として扱う限り、制度は短期最適の価格抑制に偏り、長期の供給・投資リスクを内包し続ける。高額であっても、入院日数の短縮や介護移行の遅延などを通じて医療・介護・就労損失を含む社会コストを下げるなら、その価値は償還判断に組み込まれるべきである。

ただし、社会コストの定義(公費、家計、企業、期間、割引率)や、条件付き償還・事後評価の運用(現場入力負荷、レジストリ整備、データ連結、監査)には、制度設計上の難しい部分が存在する。

返還条項を過度に厳しくすれば、企業が日本で条件付き償還を選ばず、結果としてドラッグロスを助長しかねないため、国、医療機関、企業の間でエビデンス不確実性に対する責任の分担を明確化した上で、適切なリスクシェアとして設計する必要がある。

国は「アウトカムを示せ」と求めるだけでなく、評価に必要なデータ基盤と中立的な評価の場を整備するホストになることが不可欠である。国際的にHTAの枠組みは強化されており、EUではHTA規則に基づくJCAが運用開始している。日本でも価値評価を償還に接続する運用の厚みを増すことが課題となる。

## (3) 英国市場の事例

日本と背景が異なる点に留意する必要があるものの、英国では、米国が英国製医薬品に対する追加関税をゼロとする一方で、英国側が新薬の国内価格引き上げを容認するという政策的な「取引」が成立している。英国において、この「取引」が、関税政策と薬価・評価制度の運用が相互に整合する「暗黙の政策的整合」として成立しているとの見方は、制度の運用実態と国際交渉環境を踏まえれば、政策示唆として一定の妥当性を有する。英国は、国民医療制度であるNHS(National Health Service)を通じ、厳格な予算制約の下で医薬品アクセスを管理してきた。一方で、創薬拠点としての国際競争力維持や、米国市場へのアクセス確保という観点から、革新的新薬についてはHTAの運用を柔軟化し、結果として実効薬価が上昇し得る余地を広げた。この動きは、NICE(National Institute for Health and Care Excellence)による評価枠組みの調整や、成果連動型契約の活用拡大といった形で現れている。この結果、英国は短期的には医療財政への負担増というコストを受け入れつつも、米国による医薬品関税・通商上の不確実性を抑制し、英国発医薬品の輸出競争力・供給安定性を確保するとともに、グローバル企業にとっての「早期上市国」としての地位を維持する中長期的な便益を選択した。すなわち、国内薬価の一定の引き上げを「コスト」ではなく、「国際市場へのアクセス権と産業基盤を守るための戦略的投資」と位置付けている点に、この事例の本質がある。もっとも、このアプローチは日本市場と単純に同列には論じられないが、日本では、国民皆保険の下で薬価が公的に統制され、かつ医薬品産業にとっては「社会保障費抑制の調整弁」として位置付けられてきた経緯がある。しかしながら国内薬価の低水準が国際参照価格を通じて海外市場での価格形成リスクとして跳ね返る構造が生じている点で、英国のような制約条件に直面する可能性がある。

英国の事例が示唆する重要な点は、外圧(通商・地政学・国際価格参照)を所与のものとして受け入れるのではなく、国内の価格政策・評価制度を調整し、自国の医薬品アクセスと産業競争力の両立を図るといった政策発想が現実的な選択肢となり得るという示唆である。繰り返しになるが、この観点に立てば、日本においても、国内薬価を一律に抑制し続けることが「医薬品アクセスの最大化」に本当に資するのかといった点や、低薬価がグローバル市場で参照価格として機能することによる中長期的な不利益医薬品を社会保障費の一項目ではなく、輸出産業・安全保障インフラとしてどう位置付けるかといった点を再検討する必要がある。英国の事例は、その是非を即断するものではないものの、価格政策が国内問題にとどまらず、米国は海外に薬価引上げを要求するフェーズとなり、日本がOECD最安値で注目されるターゲットになる可能性が高くなることから、国際交渉力と産業戦略に直結するという現実を示す、重要な参照事例であると考えられる。

#### **(4) 医薬品を「成長産業／経済安全保障インフラ」として正式に位置付ける**

日本の医薬品産業を、単なる社会保障費の一部と見るのか、それとも高付加価値輸出産業であり、国家の安全保障を支える基幹インフラと捉えるのか。この認識の違いが、政策の優先順位を決定付ける。医薬品産業は、研究開発・知財・国際展開を通じて平時の成長を生み、有事には迅速な供給切り替えを可能にする二重用途(dual-use)産業である。この性質は、防衛やエネルギーと同様、市場原理だけに委ねることが最適解とはならない。

国は、医薬品・原薬・治験・バイオ製造基盤を経済安全保障の正式な構成要素として位置付け、補助金、税制、迅速審査、研究支援といった非価格インセンティブを体系的に設計すべきである。同時に、国内での安定化にとどまらず、海外市場を主たる収益源とする構造転換を後押しする必要がある。この文脈で重要なのが、薬事・治験・当局間連携の強化である。迅速承認は目的ではなく、国際開発ネットワークから排除されないための戦略的投資である。受け身の規制対応に終始すれば、欧米との差は拡大する一方である。

また、企業が国内拠点を維持する価値は、薬価だけで評価されるべきではない。国内拠点は、有事に供給を切り替えるためのリアルオプションであり、その価値に対しては、価格以外の政策手段で報いる設計が求められる。同時に、国は企業側に対して一定の基準と再編に向けた努力を再度求めるべき段階になっている。

### まとめ：国が取るべき方針を整理する

- 薬価を一律の算式で調整しない  
高額薬は条件付き償還とアウトカム評価、基盤薬は供給義務と下支え、汎用品は競争徹底というレーン分離で制度を再設計する。
- 医薬品産業を再度内需依存から外貨獲得型へ語り直す  
歳出ではなく、輸出・安全保障・成長戦略として位置付け、省庁横断で具体策を設計する。
- 医療費ではなく社会コスト全体で説明する  
価値を証明して価格を正当化する産業へ転換するための中立的評価基盤を整備する。

高齢化が進む日本において、薬価は今後ますます「下げるべき領域」と「守るべき投資領域」に分離されていく。国は薬価を中心とした政策で医薬品産業をコントロールして解決しようとする発想を捨て、価格以外の政策レバーを可視化し、組み合わせて使う覚悟を持てるかどうか、今後10年の分水嶺となる。

「薬は安い、薬が手に入らない国」になるのか、それとも、「医療の質と産業競争力を両立する国」になるのか。

この選択を戦略として描ける国と企業だけが、持続可能な医薬品エコシステムを維持・発展させていくことができる。



## おわりに

本稿で確認してきたとおり、今後10年の医薬品産業は、人口・疾患構造、財政と薬価制度、医薬品開発制度、テクノロジーの進化、地政学、そして患者主権とデータ連携の加速という6つの潮流が格子状に作用し、「薬を創る力」だけでは競争力を定義できない時代へ移行していく。上市国の優先順位、エビデンス設計、価格・契約の運営、供給の信頼性、アウトカムの証明といった要素が同時に問われ、企業の勝敗は“実装力(Execution at Scale)”で決まる構造に変わりつつある。

この変化の中で日本は、世界で最も早く高齢化と財政制約の複合課題に直面する「最前線」にある。したがって、薬価政策は今後さらに、機械的な引き下げで効率化すべき領域と、社会的基盤として守るべき領域に分離されていくことが避けられない。問題は、その分離の設計を曖昧なまま運用し続ければ、企業にとって投資回収の予見性が損なわれ、結果としてドラッグロス/ドラッグラグという形で患者アクセスの劣化を招きかねない点にある。すなわち「薬が安いこと」自体が目的化した瞬間に、「必要な薬が届かない」という逆説が現実味を帯びてくる。

他方で企業側も、単に「薬価を守る・上げる」と主張するだけでは、社会的合意を得ることは難しい。求められるのは、海外で稼ぐ収益力を確保しつつ、国内では供給責任を果たし、さらにアウトカムに基づく価値を示すことで社会に説明できる体制へ進化することである。言い換えれば、海外収益×国内供給×アウトカム価値提示という三本柱を、経営・組織・データ・KPIに落とし込み、国との交渉を“価格”ではなく“制度設計”として行える企業へ変わらなければならない。その延長線上では、研究開発基盤・供給基盤・グローバル運営力を厚くするための再編や提携も、いずれ「避けられない選択肢」になっていく。

国に求められるのは、薬価だけで医療費抑制・産業育成・安定供給を同時に達成しようとする発想から脱却し、税制、迅速承認、安定供給支援、データインフラ投資といった“非価格レバー”を組み合わせて、医薬品を成長産業かつ経済安全保障インフラとして扱う政策体系へ引き上げることである。医薬品を「社会保障コストの一項目」と見るのか、「QOLを支えるインフラであり、外貨を稼ぎ、有事に備える戦略産業」と見るのか。この認識の差が、次の10年の制度設計と産業競争力を決定付ける。

米国は、既に制度・通商・供給網を含めた再設計に動き出している。日本もまた、受け身の価格調整ではなく、国と企業が“持続可能な医薬品エコシステム”を共同で設計する段階に入ったと捉えるべきである。本稿の結論は、10年という時間軸でこの転換を描き切れる企業と国だけが、患者アクセスと産業競争力を両立させられる、という点に尽きる。

次稿以降では、議論をマクロからミクロへ移し、日本企業を類型化した上で、外資系企業との比較から競争優位の源泉を掘り下げる。さらに、2035年を見据えた基本シナリオ(背景・環境)を複数提示し、シナリオ別の勝ち筋としての価値提供モデル、必要となる能力・KPIの具体像へと議論を進めたい。



## PwC Japanグループ

<https://www.pwc.com/jp/ja/contact.html>



## [www.pwc.com/jp](https://www.pwc.com/jp)

PwC Japanグループは、日本におけるPwCグローバルネットワークのメンバーファームおよびそれらの関連会社 (PwC Japan有限責任監査法人、PwCコンサルティング合同会社、PwCアドバイザリー合同会社、PwC税理士法人、PwC弁護士法人を含む) の総称です。各法人は独立した別法人として事業を行っています。

複雑化・多様化する企業の経営課題に対し、PwC Japanグループでは、監査およびブローダーアシュアランスサービス、コンサルティング、ディールアドバイザリー、税務、そして法務における卓越した専門性を結集し、それらを有機的に協働させる体制を整えています。また、公認会計士、税理士、弁護士、その他専門スタッフ約13,500人を擁するプロフェッショナル・サービス・ネットワークとして、クライアントニーズにより的確に対応したサービスの提供に努めています。

PwCは、クライアントが複雑性を競争優位性へと転換できるよう、信頼の構築と変革を支援します。私たちは、テクノロジーを駆使し、人材を重視したネットワークとして、世界137の国と地域に364,000人以上のスタッフを擁しています。監査・保証、税務・法務、アドバイザリーサービスなど、多岐にわたる分野で、クライアントが変革の推進力を生み出し、加速し、維持できるよう支援します。

発刊年月：2026年3月

管理番号：I202602-01

© 2026 PwC. All rights reserved.

PwC refers to the PwC network member firms and/or their specified subsidiaries in Japan, and may sometimes refer to the PwC network. Each of such firms and subsidiaries is a separate legal entity. Please see [www.pwc.com/structure](https://www.pwc.com/structure) for further details.

This content is for general information purposes only, and should not be used as a substitute for consultation with professional advisors.