

データ保護

- 特許の保護が生物科学産業の将来にとって重要であることは十分に理解されていますが、承認申請データの保護もバイオテク産業や製薬産業にとって極めて重要な要素です
- 例えば、バイオ技術の進展により、多くの候補化合物がターゲット遺伝子による化合物ライブラリーのスクリーニングから得られるようになっていますが、この手法では公知の化合物を用いるために、特許による保護が得られません
- また、欧米では広く使用されている臨床的に重要な新薬が日本では承認されていない場合がありますが、これらの成分の多くは日本での特許が切れているか切れかかっています。このため、多大な費用と時間を投入して日本で承認を得ることが企業にとって難しくなっています
- しかし、欧州と同様に10年間の保護期間が付与されることにより、日本市場への新薬の投入が可能となります
- 日本は知的財産保護政策では先行してきました。知的財産が国際的に適切に保護されるよう、日本が欧州とともに再度先導的な役割を果たすことを期待します

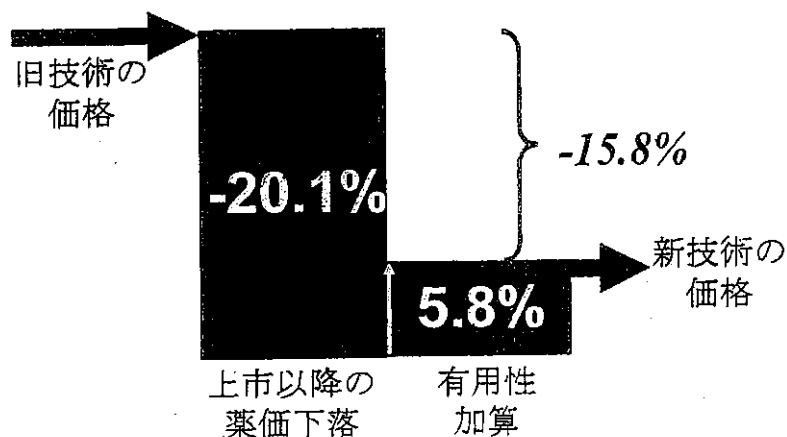
Data Exclusivity

- **The Japanese government understands well that globally competitive patent protection is key to the future of the life sciences industry. However, data protection is also vital for both the biotechnology & pharmaceutical industries**
- **In the biotech era, many drug candidates are obtained by screening chemical libraries focusing on a target gene. However, these compounds are quite difficult to protect with patents**
- **There is a cohort of therapeutically important innovative pharmaceuticals that are available in the US & EU, but are currently unapproved for use in Japan. In many cases, these drugs are nearing, or have past, the end of their patent terms in Japan, and there is no incentive for companies to invest in the lengthy and costly process to seek marketing approval in Japan**
- **However, if a 10-year marketing exclusivity period were to be introduced, this would provide significant incentives for companies to initiate the process of introducing these drugs into the Japan market**
- **Japan has always been a leader in intellectual property protection. Japan should take a lead again, along with the EU, to ensure IP is adequately protected globally**

薬剤給付・薬価制度

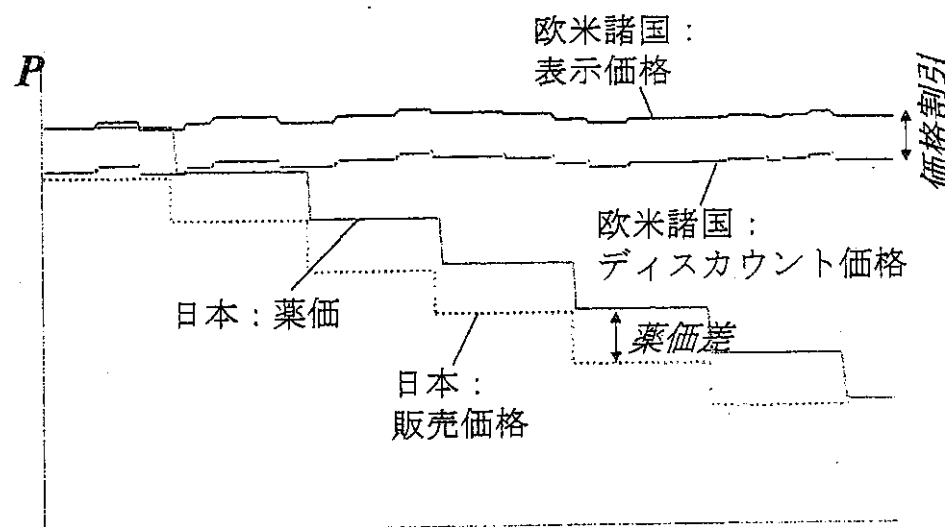
- 世界的に研究開発費が高騰している中で、日本では新薬の上市価格の水準が構造的(スパイラル的)に下落する仕組みとなっています
- このような中で、新有効成分の治験開始件数は過去10年間で1/3にまで減少しています
- 日本国民の新薬へのアクセスを維持するという観点から薬価制度・薬剤給付のあり方について検討していただきたい

構造的に下落する新技術の価格



*注: 2001年から2003年4月に有用性加算の対象となった新薬を対象

スパイラル的な価格下落

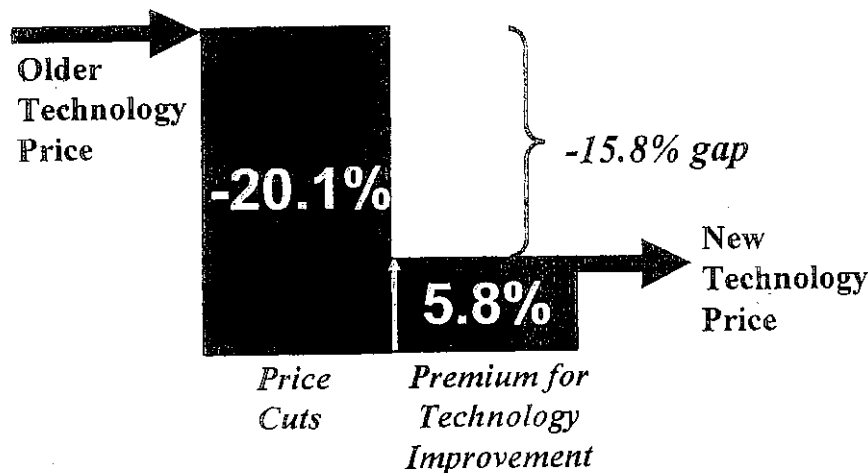


Reimbursement / Drug Pricing

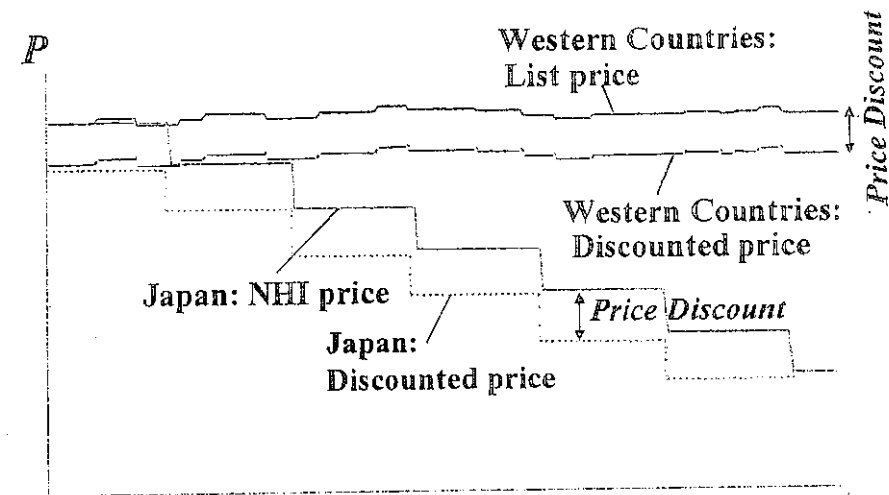
- Although the cost of drug R&D has increased significantly, the level of launch prices have been lowered systematically, in a downward spiral
- In this situation, the number of NCEs which start clinical trials in Japan has been reduced to nearly one-third over the last decade
- The reimbursement & drug pricing systems should be reexamined from the viewpoint of patient access

-12-

Systematic Reduction of Innovation Price



Spiral down of drug price

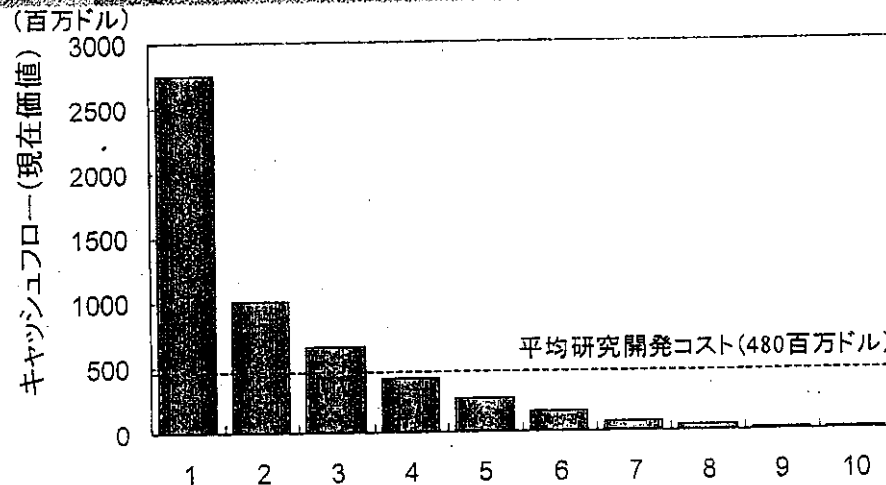


*note: all drugs awarded premiums by the DPO from 2001 to 4/2003

研究開発促進税制

- オーフアンドラッグ等に関する税制上の優遇措置を平成16年度以降の税制改正要望に盛り込むという点については賛成です
- しかし、研究開発投資の促進は、原則的にはまず薬剤給付・薬価制度で適正に評価されることが前提だと考えます
- 医薬品の研究開発投資では、オーファンドラッグだけが投資を回収できないのではなく、上市された新有効成分の7割は研究開発投資を回収できない状況にあります
- 市場で成功し、投資を回収できる3割の新薬こそが、オーファンドラッグをはじめとする投資を回収できない医薬品の開発原資であることを理解していただきたい
- 再算定ルールは、市場で高く評価された医薬品にペナルティを課すものであり、廃止していただきたい

1990-94年に上市された新薬におけるリターンの分布(118品目の平均)

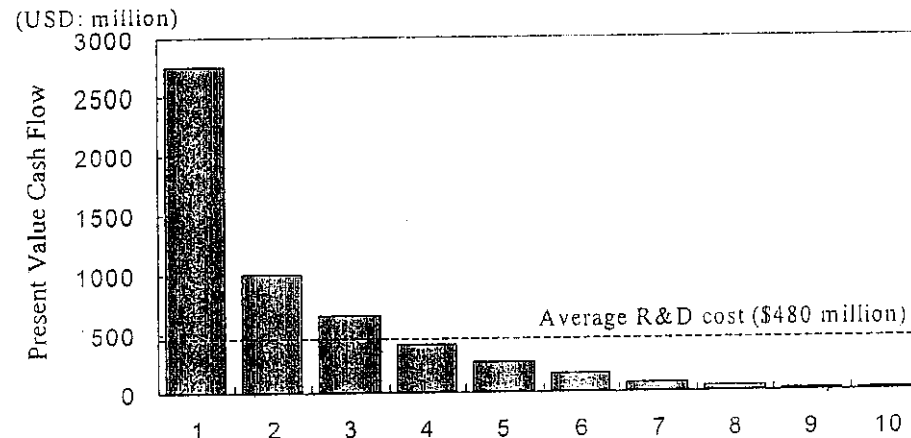


Source: H. Grabowski, Duke University (in printing)

R&D Tax Credits

- We support the idea of preferential tax measures for orphan drugs
- However, promotion of drug R&D should primarily be considered in the reimbursement / pricing system
- It is not only orphan drugs which cannot recoup R&D investment... 70% of all NCEs launched cannot recoup their R&D costs
- It must be recognized that the return on investment for the remaining 30% of new drugs that are successful, must financially support the other 70% of drugs, including orphans
- The repricing rule penalizes those drugs highly evaluated by the market & thus should be abolished

Decile Distribution of Returns to NCEs in 1990-94 (n=118)



Source: H. Grabowski, Duke University (in printing)

市販後安全対策

- 安全で有効な医薬品が医療従事者から提供され、患者がその便益を享受することが重要であることはいうまでもありません
- 生命科学の時代において、世界の医療ニーズに応えるべく産業は新しい治療薬を国際的に開発しています
- 国際的な開発が一般化している中では、市販後安全対策の手続は、国内データと海外データに対するバランスのとれた配慮に基づいて行われるべきとPhRMAは考えています
- また、安全対策においては、政府と産業の双方が責任を分担する必要があります。医薬品産業は安全性情報を収集・報告する責任を負い、そのための多大な費用を負担しています。他方、提出された安全性情報を適切に処理する責任と費用負担については、全ての主要先進国で政府が担っています

PMS

- Industry Shares MHLW's interest & concern for providing safe & effective products for use by medical professionals & for the benefit of patients
- In this age of life sciences, industry is developing new therapeutic agents globally in order to meet the medical needs of the world community
- PhRMA believe that PMS procedures should be based on balanced consideration of both Japanese and global data
- Safety is an issue that is both the responsibility of government & industry. Industry accepts the responsibility & significant expense of collecting & reporting safety data in the PMS process. In all major global regulatory agencies, government assumes the responsibility and expense for processing the safety data

ユーザー・フィー制度

- 新薬の審査手続により多くの資源を投入するために日本でユーザー・フィー制度を導入することに対し、PhRMAは全面的に支援する所存です
- この制度を支援するにあたり、PhRMAは以下の点が充足される必要があると考えています：
 - 審査手数料は、現行の政府支出・財源を補充するものであり、それにとって代わるものでないこと
 - 審査手数料は、新薬の審査にのみ充当されるべきであること
(医薬品安全対策の基盤整備への投資は政府により行われるべき)
 - 審査手数料が妥当な額であること
(現在の産業側の負担水準は欧米と同等かそれ以上である)
 - 審査手数料は、新薬承認審査期間の短縮と直接的に結びつくこと
(申請から承認までを12ヶ月以内とすることを目標とすべき)
 - 審査手数料は、政府が監督機関の業務効率改善および手続の改善に長期的な取り組みを行うことを前提とした制度であること
 - 独立行政法人医薬品医療機器総合機構は、業務実績に関する詳細な情報を年次ベースで公表すること

User Fees

- **PhRMA fully supports the concept of Japan establishing a User Fee system in order to ensure greater resources to process and review NDA applications.**
- **To support this system, PhRMA requires that it fulfill the following criteria:**
 - That User Fees supplement, and do not replace, existing government appropriations,
 - That User Fees are fully dedicated to reviewing new drugs (funding of the drug safety infrastructure should be provided by government),
 - That User Fees are reasonable (Current industry funding level in Japan is already higher than the US and similar to the EU),
 - That User Fees are linked directly to a reduction in NDA review time, with a target of a 12-month total elapsed time from filing to approval
 - That User Fees are based on a long-term government commitment to improving overall agency performance and process
 - That the PMDO will publish detailed performance information on an annual basis