



# efpia\*



**EU-Japan Health Innovation Forum 2023**

**日欧ヘルスイノベーションフォーラム 2023**

*Ensemble, partnering for a sustainable health innovation system*

～イノベーションの力で未来を切り開く～

12 Apr 2023 @ Europe House / Online

**【Opening】**

16:00-16:10	Opening Remarks	Mr. Hubertus von Baumbach, President of EFPIA (video) Mr. Takahiko Iwaya, Chair of EFPIA Japan
-------------	-----------------	---

**【Part1 Lectures about Initiatives encouraging innovation】****From Industry**

16:10-16:25	(1) Opening the future with the power of innovation	Ms. Kanako Kikuchi, Board Member of EFPIA Japan
16:25-16:40	(2) Opportunities to enhance Japan's global market attractiveness	Mr. Paul Hudson, Chief Executive Officer, Sanofi

**From Government**

16:40-16:55	(1) EU's vision for innovation	Mr. Jean-Eric Paquet, EU ambassador
16:55-17:10	(2) Policies of promoting innovation in Japan	Mr. Shinichi Isa, State Minister of MHLW (video)

## &lt;Formation Change&gt;

**【Part2 Dialogues; “The importance of continuously seeking for innovations and expectations for the future”】**

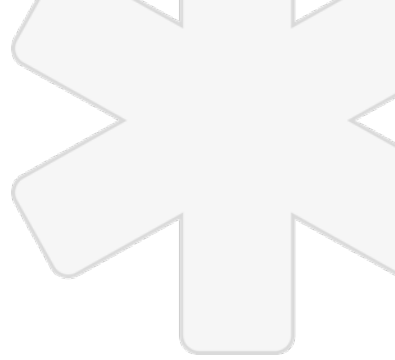
17:15-17:55 (40 min)	Moderator: someone professional Panelist 1. Patient Panelist 2. HCP Panelist 3. Government Panelist 4. Industry	Ms. Naomi Sakurai, Japan Federation of Cancer Patient Groups Dr. Watanabe, Director of Japan Medical Association Mr. Katsufumi Jo, Assistant Vice Minister of MHLW Mr. Kasper Bødker Mejlvang, Board Member of EFPIA Japan
-------------------------	---	---

**【Closing】**

17:55-18:00	Closing Remarks	Mr. Takahiko Iwaya, Chair of EFPIA Japan
-------------	-----------------	--



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

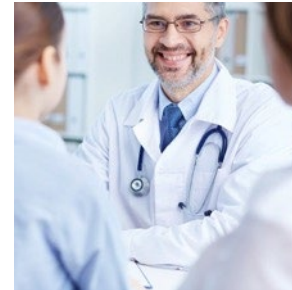


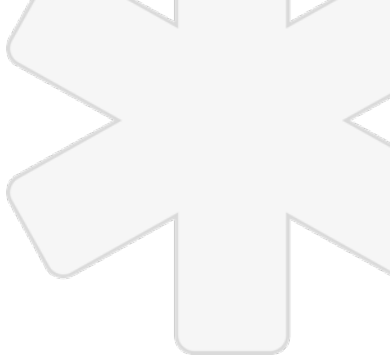
# Opening Remarks

Mr. Hubertus von Baumbach, Chief Executive Officer, C. H. Boehringer Sohn AG & Co. KG (Video Message)  
Mr. Takahiko Iwaya, President and Representative Director, Sanofi K.K.



**President of EFPIA  
Chair of EFPIA Japan**



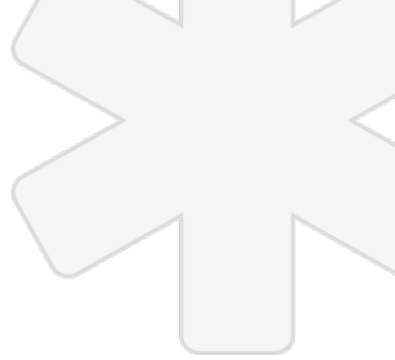


# Part 1 Lectures

Lectures about Initiatives encouraging innovation

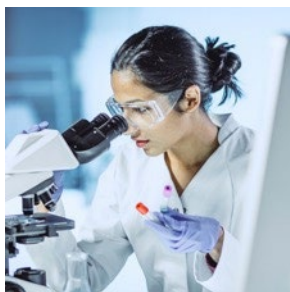


European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

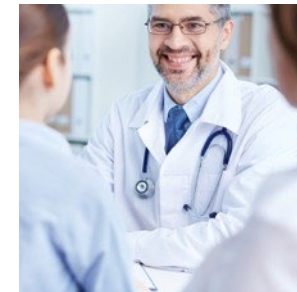


# EU Japan Health Innovation Forum 2023

- Opening the future with the power of innovation -



**April 12, 2023**  
**Kanako KIKUCHI**  
EFPIA Japan Board Member  
Representative Director and President, UCB Japan Co., Ltd.



# EFPIA Japan is delivering patient-centered innovations

✳️ **Establishment:** 2002 (became a general incorporated association in 2022)

✳️ **Overview:** EFPIA Japan is comprised of European R&D-oriented pharmaceutical companies operating in Japan. Our mission is to contribute to healthcare and patients in Japan through the early introduction of innovative medicines and vaccines, and we aim to strengthen dialogue with policymakers to improve healthcare in Japan.

✳️ **Membership:** 23 companies (as of April 2023)

## ✳️ Board Companies

AstraZeneca K.K.

GlaxoSmithKline K.K.

Merck BioPharma Co., Ltd

Novartis Pharma K.K.

Sanofi K.K.

Bayer Yakuhin, Ltd.

Janssen Pharmaceutical K.K.

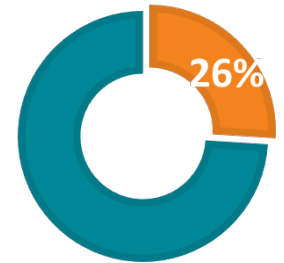
Nippon Boehringer Ingelheim Co., Ltd.

Novo Nordisk Pharma Ltd.

UCB Japan Co., Ltd.

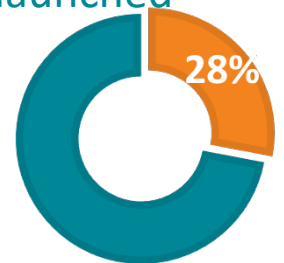
Percentage of the total sales of EFPIA Japan member companies in the ethical drug market in Japan <sup>1)</sup>

26%



Proportion of new drugs launched by EFPIA Japan member companies among new drugs launched recently in Japan <sup>2)</sup>

28%



1) Approximately 2.8 trillion yen (EFPIA Japan 2021)

2) 46 components (EFPIA Japan 2019 – 21)

# What EFPIA Japan thinks about innovations are:

- **Patients' voices are a source of innovation**
- **Healthcare innovation aims to:**
  - Bring hope to patients and change & save lives of patients and their families
  - Extend healthy life expectancy, energize society, and contribute to better communities
  - Make science and medical practice to progress
- **Each one, even one who is supporting others, may become a patient one day.**
  - Stakeholders should understand each other and help to create innovations





# EFPIA Japan executes the five strategies to continue creating innovations and bring them to patients

1

Drive pharmaceutical innovations while sustaining universal healthcare

2

Be engaged in the development of cost-effectiveness assessment processes that ensure patient access

3

Promote the improvement of R&D and regulatory environments

4

Support the enhancement of health literacy

5

Leverage innovative technologies such as regenerative medicine, gene/cell therapy, and digital and develop talent



# Drugs & Vaccines innovations in Japan

1. Do innovations occur spontaneously?
2. How can patients access innovations?

# Drugs & Vaccines innovations in Japan



## 1. Do innovations occur spontaneously?

- **Suitable infrastructures and regulations are needed**

Agile regulatory frame in line with international standard and ready to address/review new technologies

- **Appropriate financial conditions are required: *Costs? OR Investment?***

Let's think about the total benefits that society may gain

- Innovations will protect people suffering from new diseases or currently incurable diseases
- The percentage of pharmaceutical products in the total national healthcare spending has been around 20% as direct cost but also help to save overall HC cost

## 2. How can patients access innovations?

A patient-friendly system must be built to help patients benefit from the innovations they need while maintaining Universal Healthcare System

# An innovation-friendly environment must be built through:

- \* Building an open ecosystem that fits Japan
- \* Introducing an International harmonized regulatory system that starts NDA review based on the topline results of confirmatory clinical trials
- \* Creating opportunities that encourage collaboration between clinical research core hospitals and pharmaceutical companies
- \* Creating opportunities to discuss how to promote industry-government-academia collaborations in the development of innovative new drugs

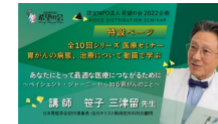


# EFPIA Japan promotes the creation of an environment where the patient's voice can be heard: *Patient Advocacy Support by EFPIA Japan (PASE)*

- \* PASE (Patient Advocacy Support by EFPIA Japan):**  
 EFPIA Japan's patient group support project launched in 2017
- \* Overview:** PASE encourages patient groups to act more energetically and **make policymakers reflect patients' voices in the healthcare system** in Japan, thereby improving the healthcare environment surrounding patients.
- \* PASE Awards:** Every year, EFPIA Japan provides grants to organizations contributing to the advancement of patient rights advocacy activities.
- \* Education to patients about disease, treatments, etc.**

## 助成金を活用して

- 活動目的：**
- 胃がん領域で**患者参画ができる人員を増やす患者教育**
  - 情報発信資材の作成を難病の方の**就労機会として委託**
- 活動計画：**
- 2022年度 全10回のオンラインセミナー配信開始
  - 配信した全10回の動画をもとに**冊子作成⇒より多くの人へこの動画収録、編集を難病支援団体が担当**
  - この動画作成、冊子をパイロットケースとして、次年度日本胃癌学会と共に、患者教育プログラム作成を検討  
**患者市民参画推進**
- 活動により得られる成果：**
- 患者参画ができる人員を増やす **患者市民参画推進**
  - 医療者と協働することでの**双方向の理解** **ヘルスリテラシーの向上**
  - 病を持つ人の**就労支援** **納得ができる選択**
  - 病を持つ人の**環境改善**



可動域 指先5cmで  
編集作業をする様子

The 5th PASE Award at EFPIA Day 2022  
 Source: Kibo-no-Kai, an award winner

# EFPIA Japan believes that cost-effectiveness analysis system should ensures patient access

## \*EFPIA's viewpoint: Four principles of cost-effectiveness analysis (CEA)

EFPIA has significant experience in the application of HTA in European markets. EFPIA suggests the following four principles for CEA system in Japan.

1. **Should not be used for reimbursement determination in order to protect patients' access**
2. **Should be used as a complementary tool for the system of drug pricing and reimbursement**
3. **Evaluate ethical and social value of pharmaceuticals from a long-term perspective**
4. **Involve all stakeholders in comprehensive evaluation to secure transparency**

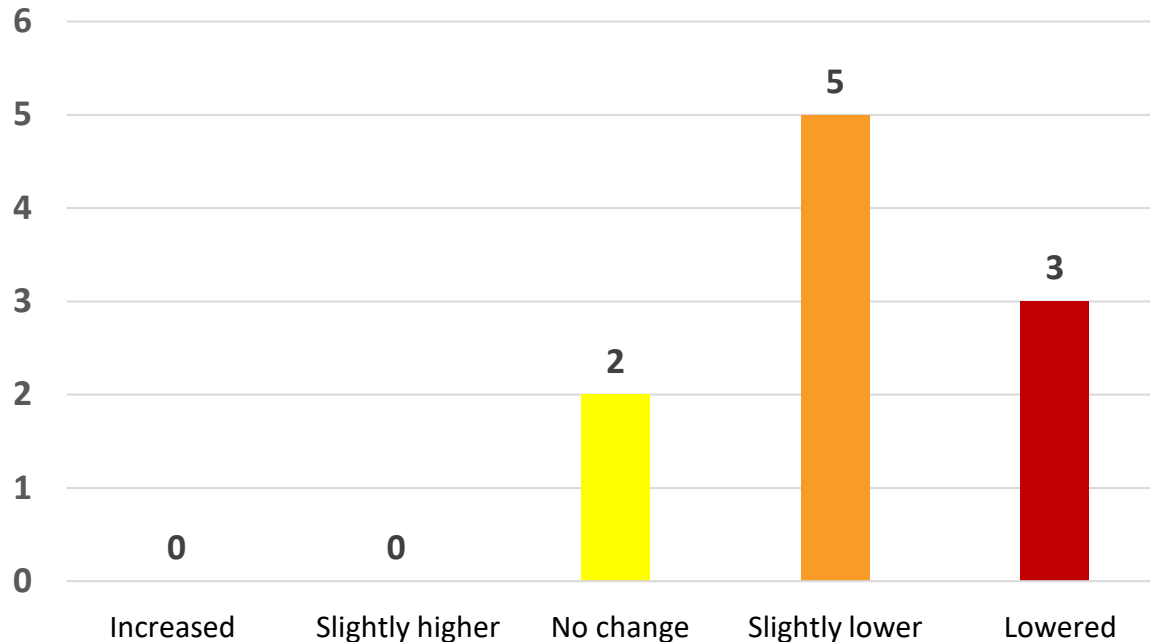
[\(JP\) EFPIA HTA Viewpoint-2019Jan.pdf](#)

# Decreased priority of the Japanese market may affect the launch of new drugs in Japan

Discontinue, postpone or delay product launch in Japan

Change in priority of the Japanese market vs other countries after the fundamental reform of the drug pricing system

Unit: Number of companies, n = 10



- Decreases in the NHI price at the initial listing, revisions in the future, and their predictability
- Need for developing products only for Japan (due to the 2-week prescription limit for newly launched drugs)
- Influence on other countries like China where Japan's NHI prices are referred to as pricing data

Source: Survey on 10 EFPIA Japan board companies (September 2022)

## For global pharmaceutical companies to bring innovative new drugs to Japanese patients as soon as possible, Japan needs to have a supportive drug pricing system



- Maintain the current system that ensures prompt NHI listing and reimbursement following the NDA approval;
- Evaluate the value of innovative drugs appropriately;
- Provide incentives for launching new drugs in Japan earlier than other countries;
- Have a high predictability;
- Be sustainable

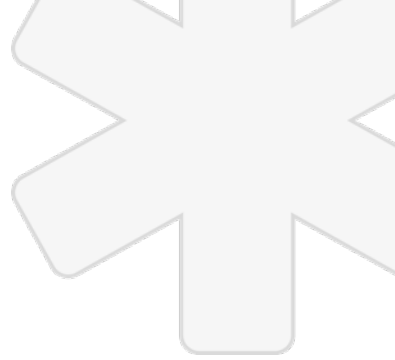


**Summary: EFPIA sees the following challenges as opportunities and will continue to engage in dialogue with various stakeholders**

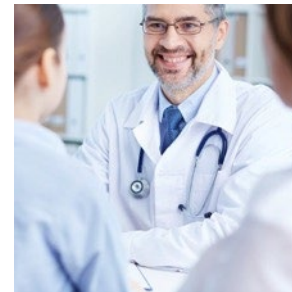
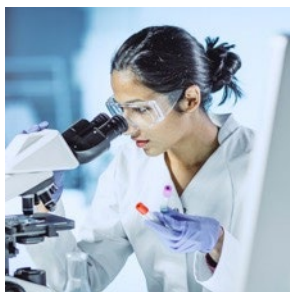
- \*Creating an environment that promotes innovation**
- \*Building a patient-friendly system to help patients benefit from the innovations they need**
- \*Being engaged in the development of Cost-Effectiveness Assessment processes that ensure patient access**
- \*Building a drug pricing system that rewards and incentivizes innovation so as to support the stable delivery of innovative new drugs to Japanese patients**



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

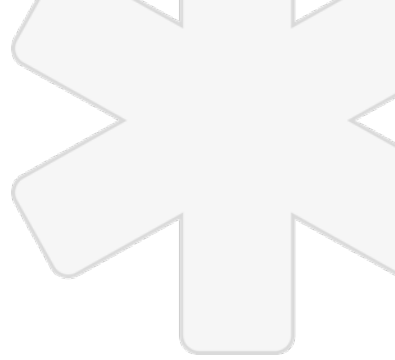


# Thank you



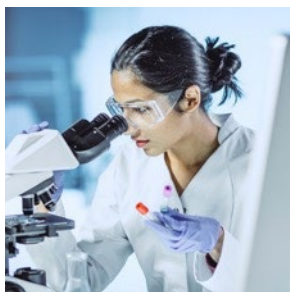


European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

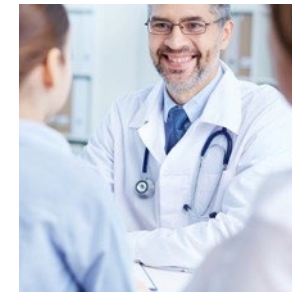


# EU Japan Health Innovation Forum 2023

- Opportunities to enhance Japan's global market attractiveness -



April 12, 2023  
**Paul HUDSON**  
Chief Executive Officer, Sanofi





# EU's vision for innovation

EU's power for innovation and DX  
for people, patients and innovation

Jean-Eric Paquet

Ambassador of the European Union to Japan

EU-Japan Health Innovation Forum

# EU-Japan Health Innovation Forum 2023

日本におけるイノベーション推進政策について

厚生労働副大臣 伊佐 進一

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

## イノベーション推進の重要性について

- 製薬産業は、国民の健康・医療の向上に寄与するとともに、今後の経済成長の中核となる重要な産業
- 国民に革新的な新薬を届けるとともに、産業として成長を続けるためには、絶え間ないイノベーションの推進が必要
- 日本政府として、以下を実施
  - ① 医薬品産業政策に関する**戦略の策定**
  - ② アカデミアやベンチャー企業との**協働の支援**
  - ③ イノベーション創出のための**環境基盤整備**

## ① 戦略 — 医薬品産業ビジョン2021 —

### (医薬品産業政策が目指すビジョン)

- 知識・技術集約型産業である医薬品産業の発展には、科学技術力の向上とイノベーションの実現が不可欠であり、以下の2点の実現を目指し、医薬品産業政策を推進
  - ① 世界有数の創薬先進国として、革新的創薬により人類の健康寿命の延伸に寄与するとともに、医学研究や産業技術力の向上を通じ、産業・経済の発展に寄与
  - ② 医薬品の品質確保・安定供給を通じて、人類が安心して良質な医療を受けられる社会を次世代へ引継ぐ



2023年1月7日

LEQEMBI™（レカネマブ）、アルツハイマー病に対する治療薬として米国FDAより迅速承認を取得



## ② 協働 — 医薬品開発の動向 —

### 医薬品開発の動向

アカデミア・ベンチャーと製薬企業との  
連携は革新的新薬開発の必須条件  
世界的にも水平分業が進んでいる



エコシステムを構築し、協業による  
イノベーションの創出を促進

海外や異業種からの参入も含め有機的に  
イノベーションが促進されていく  
オープンイノベーションコミュニティ  
の形成が必要

### 我が国における強みと課題

基礎  
研究



橋渡し  
研究



不足

事業化  
準備  
～  
事業化



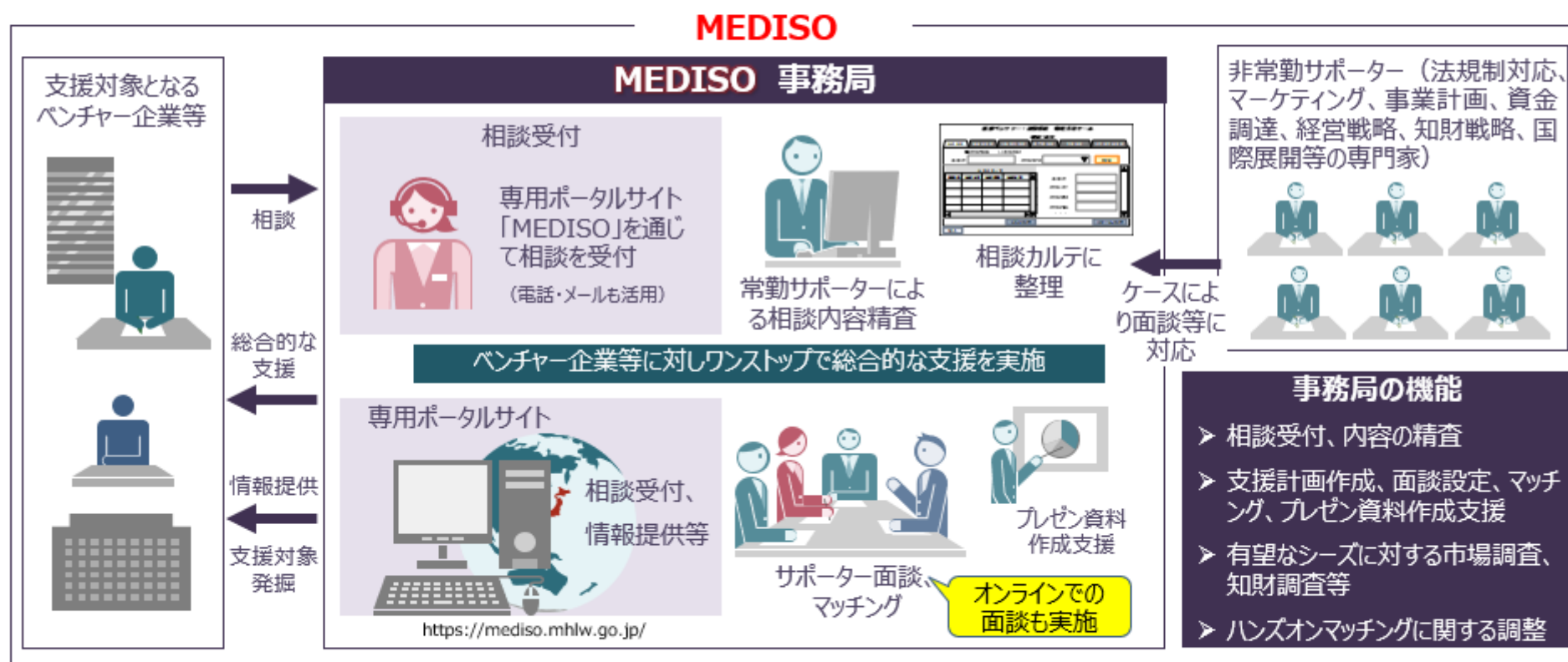
#### ■ アカデミアと製薬企業・周辺 プレーヤーは充実

- － ノーベル賞級の革新的な研究がされている
- － 内資・外資メガファーマや、技術に強みを持つ中堅製薬企業が存在

#### ■ 一方、橋渡し研究において、 民間組織のみの支援機能は 米国の様には充実化しておらず、 アカデミアシーズが産業化につな がりにくいという背景課題があった

## 医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDISO）

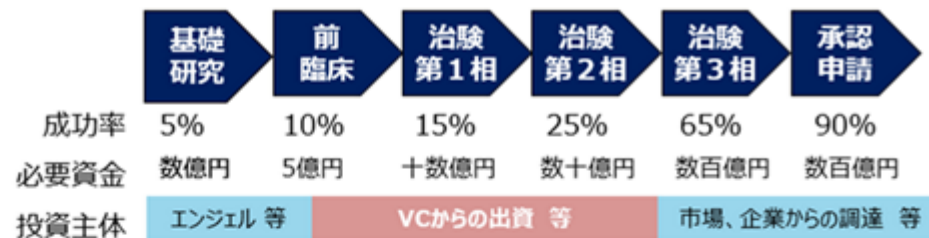
◆ **MEDISO** (**MED**ical **I**nnovation **S**upport **O**ffice) は、医薬品・医療機器等について、アカデミアやベンチャー企業が有するシーズを実用化につなげるために、研究開発から上市に至るまでの各段階で生じた課題等に総合的な支援を行うための事業。



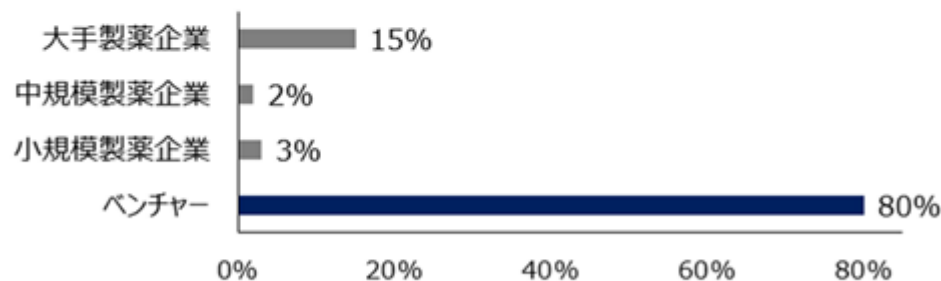
- **創薬ベンチャーは、①開発期間が長い、②開発資金が多額、③成功率が低い、④薬事承認されないと売上げがないなど、ビジネスモデルが特殊で事業化の難易度が高い。特に治験第1相、第2相は、リスクは依然大きいにもかかわらず、開発資金が50～100億円といった規模に跳ね上がる。**
- **世界的に新たな医薬品の開発は創薬ベンチャーにシフト。米国に比べて脆弱な日本の創薬・ベンチャーエコシステムでは、創薬ベンチャーが必要な資金を円滑に調達するのは困難。**

→ 車座での議論も踏まえ、創薬ベンチャーエコシステムを真に強化するため、VCと連携して実用化開発を支援する事業の対象を感染症関連以外に拡充する。

### 創薬開発のリスクと資金のイメージ



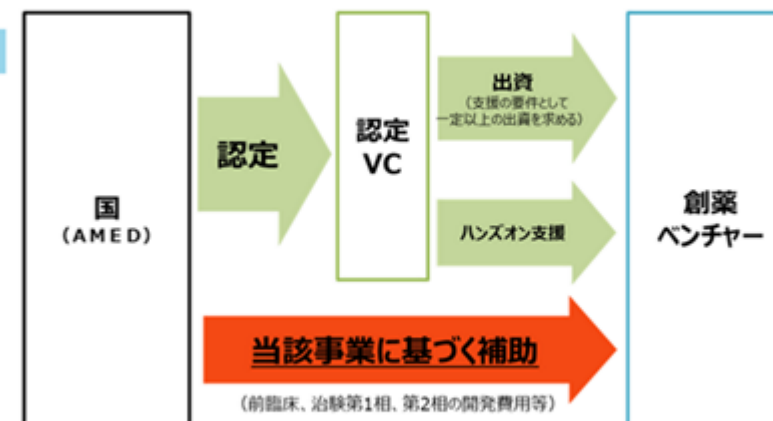
### 世界の医薬品創薬開発品目数シェア



### 事業のイメージ

VCの出資を条件に、  
民間出資1に対して2倍までの範囲で補助

⇒ 治験費確保の円滑化 + 更なる民間資金の呼び水に



- 平時は企業のニーズに応じたバイオ医薬品を製造し、感染症有事にはワクチン製造へ切り替えられる**デュアルユース設備**を有する拠点を整備。
- 令和3年度補正予算では、2022年9月末に、ワクチン製造拠点を含む17件（約2,265億円）を採択。
- **令和4年度補正予算**では、**ワクチン製造に不可欠な製剤化や充填を行う事業者、サプライチェーンリスクのある部素材等の製造事業者**を重点的に採択する方針。

## 制度概要

### ● 補助対象事業・補助率：

#### （1）デュアルユース製造拠点

①ワクチン製造拠点（大規模）→ 9/10以内

②治験薬製造拠点（小規模）

#### （2）製剤化・充填拠点

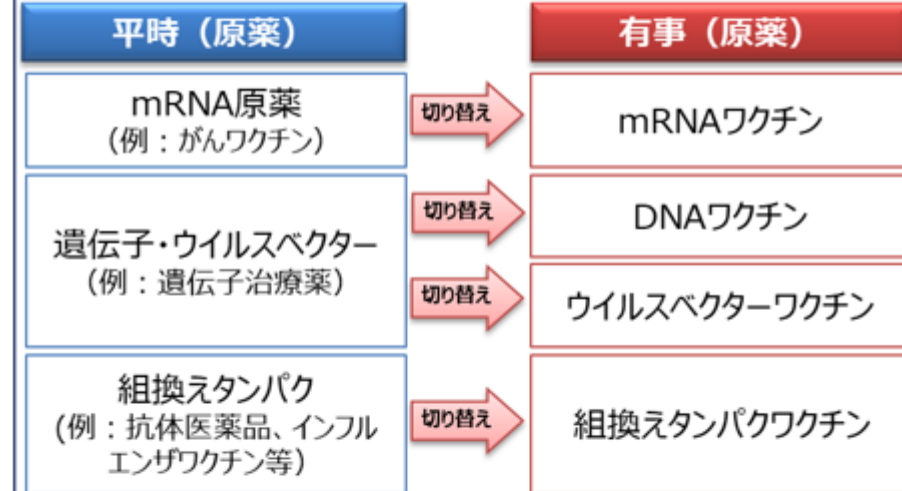
#### （3）部素材等の製造拠点

大企業 2/3以内  
中小企業 3/4以内

### ● 主な補助要件：

- ・ 国からの要請に基づくワクチンの生産・供給への協力（治験薬の製造、製剤化・充填や部素材等も同様に国から要請を行う）
- ・ 設備の保全・維持管理（事業開始から最低8年）、維持管理費の事業者負担 等

## 事業イメージ



### <部素材のイメージ>

シングルユース対応  
培養タンク



シングルユースバッグ



培地



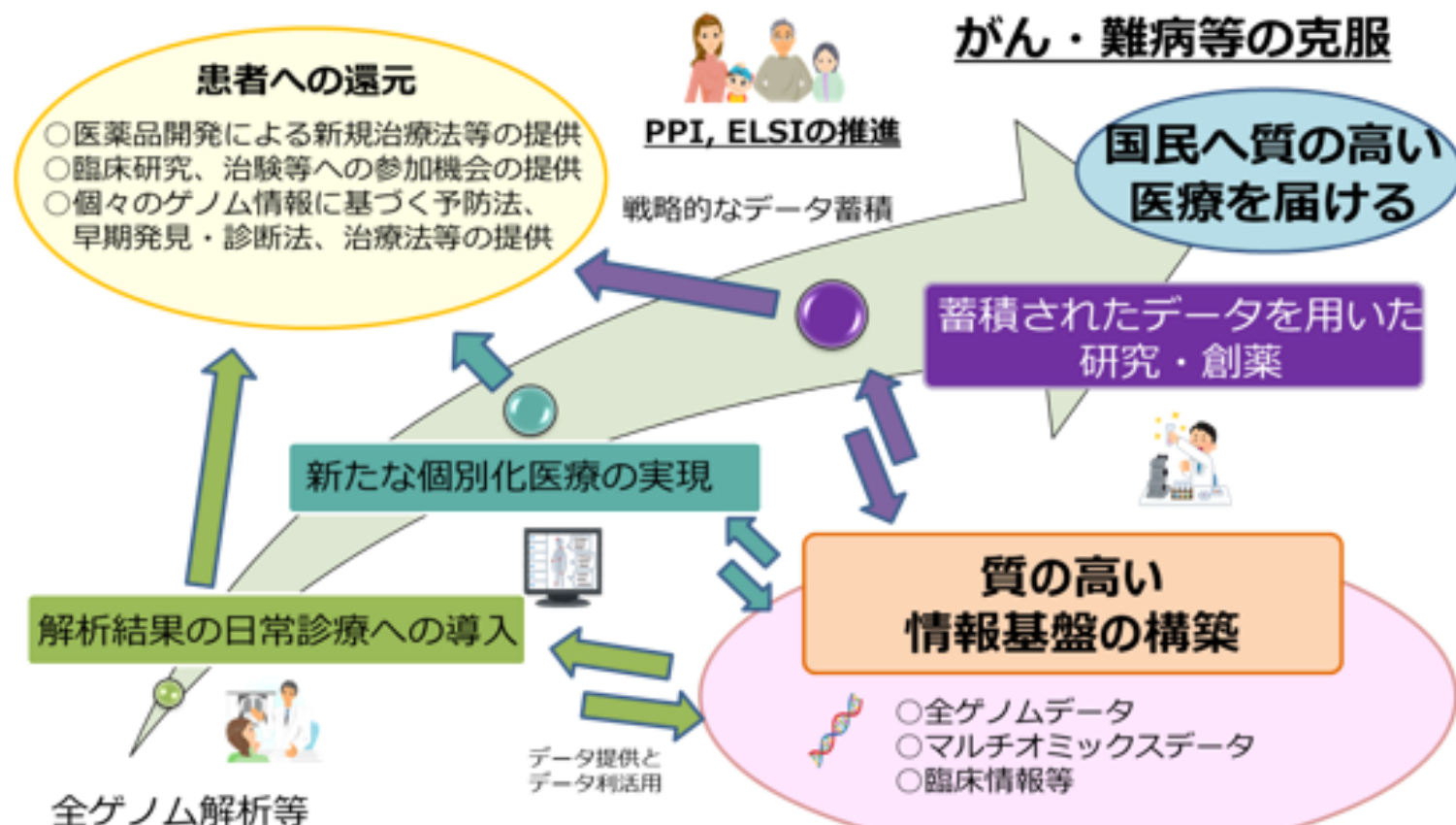


### ③環境基盤整備 ー全ゲノム解析等実行計画の推進ー

#### 「全ゲノム解析等実行計画2022」(令和4年9月30日策定)

##### 全ゲノム解析等の推進によって目指す医療の姿

- 国民へ質の高い医療を届けるために、戦略的なデータの蓄積を進め、それらを用いた研究・創薬などを促進することで、将来的な「がん・難病等の克服」を目指すことが、全ゲノム解析等の推進によって目指す医療の姿である。
- また、解析結果の日常診療への早期導入や、新たな個別化医療の実現についても更に推進する。

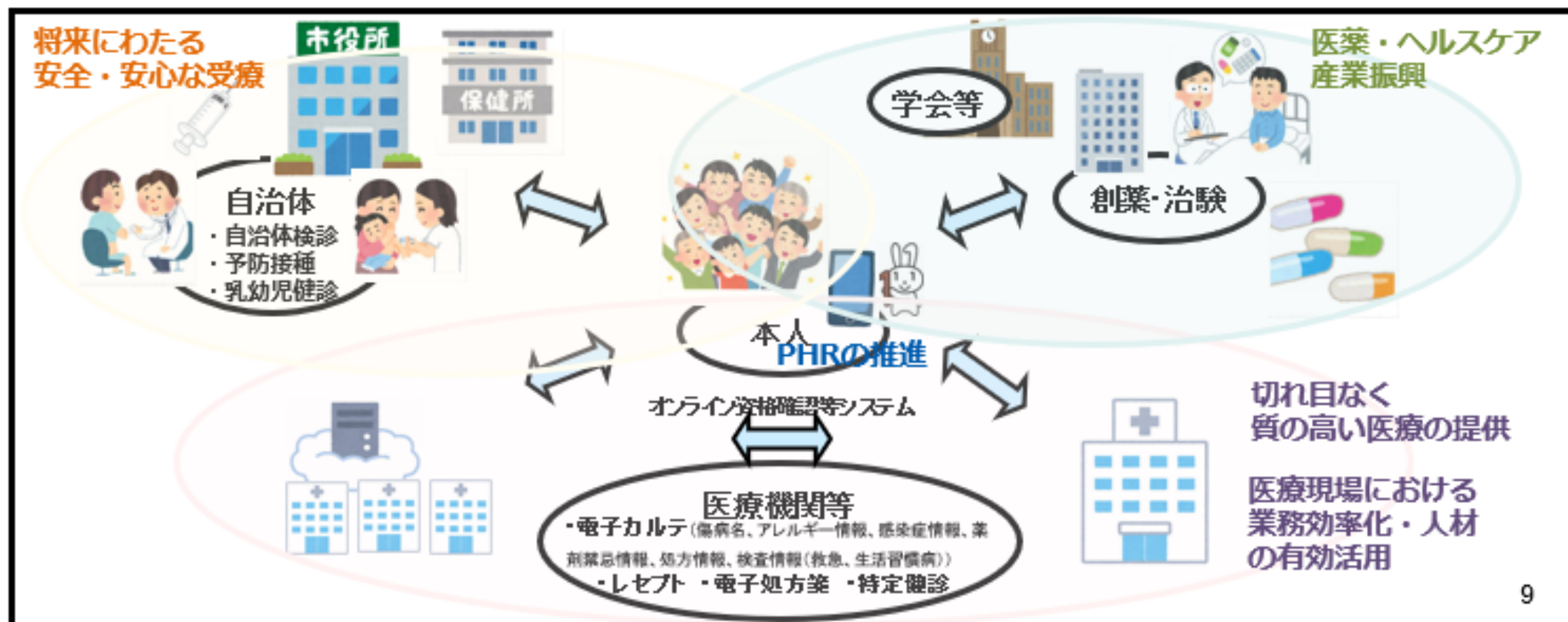


※ 患者・市民参画 (Patient and Public Involvement, PPI)、倫理的・法的・社会的課題 (Ethical, Legal and Social Issues, ELSI)

※ 本実行計画における「がん」とは、難治性がん、稀少がん、小児がん、遺伝性がん等の全ゲノム解析等による一定の効果が見込まれるが民間だけでは研究・創薬等が困難ながん種を想定。

### ③ 環境基盤整備 —医療DXの推進—

- 誕生から現在までの生涯にわたる保健医療データが自分自身で一元的に把握可能となることにより、個人の健康増進に寄与
- 本人同意の下で、全国の医療機関等が必要な診療情報を共有することにより、切れ目なく質の高い医療の受療が可能
- デジタル化による医療現場における業務の効率化、人材の有効活用
- 保健医療データの二次利用による創薬、治験等の医薬産業やヘルスケア産業の振興



### ③ 環境基盤整備 —EMAとの規制調和の取組—

厚労省・PMDAはEMAと多国間・二国間の協働を組み合わせ、国際的な規制調整を実施

#### ◆ 多国間協力：

医薬品等の共通ガイドラインの策定（ICH）、薬事規制に関する規制調和の方向性等を指示・調整（ICMRA）の場等での協働を通じ、世界の共通規制基盤を整備

#### ◆ 二国間協力：

希少疾病領域等の特定領域での協働、EMA審査へのPMDA専門家の参加（Open Project）、相互の専門家人材の派遣等を通じ、実務の観点から規制調和を実施

#### 〔多国間協力（例）〕

##### ICH（医薬品規制調和国際会議）

○医薬品規制当局と製薬業界の代表者が協働して、医薬品規制に関するガイドラインを作成する国際会議

○1990年より開始（欧州と日本は共に初期創設メンバー）

##### ICMRA（薬事規制当局国際連携組織）

○薬事規制に関する規制調和の方向性等を指示・調整する場

○アジア・欧州・米国の約30カ国・地域の薬事規制当局トップで構成

○2013年より開始

○議長：EMA長官（EU） 副議長：PMDA理事長（日本） 他

#### 〔二国間協力（例）〕

##### 特定領域の協働（FDAも参加）

○分野（クラスター）ごとに規制の考え方・対応等を協働

（例）・希少疾病領域の開発・審査協働の考え方

・GCP※イニシアチブ（日米欧のGCP査察情報の共有）

※GCP：医薬品の臨床試験の実施の基準

##### EMA審査への参加（Open Project）

○新型コロナを踏まえ、EMA審査へのPMDA審査官の参加・

意見提供。今後も他領域に拡大予定。

##### 相互の専門家人材派遣

○PMDAより、専門家をリエゾンとしてEMAに長期派遣

○EMAより、トピックに応じた専門家をPMDAに短期派遣



### ③ 環境基盤整備 ー日本の規制制度をアジア各国にー

#### アジア健康構想に向けた基本方針

(平成28年7月健康・医療戦略推進本部決定、平成30年7月改定)

UHCと健康長寿社会を実現し、持続可能な経済成長が可能な新たなアジアを創るため、相互互恵的なアプローチによる取組を進める。

医療・介護技術  
の普及

保険等の  
社会制度整備

日本の民間  
事業者の進出

医薬品・医療機器  
へのアクセス

人材育成

ICH※等において合意されたガイドラインを規制基盤として活用

※医薬品規制調和国際会議

#### アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン

(令和元年6月及び令和2年7月 健康・医療戦略推進本部決定)

##### 臨床開発体制の充実

アジア域内で臨床試験実施拠点のネットワークを構築。

医薬品・医療機器開発の迅速かつ低コストな実施へとつなげる。

→ がん・感染症領域で拠点・ネットワークを構築

##### 薬事規制調和の推進

アジア域内で国際的に調和した規制の構築により、垣根のないマーケットを整備。

優れた日本製品のアジア諸国での迅速導入を目指す。

- PMDAアジア医薬品・医療機器トレーニングセンター
- 規制当局間のマルチ・パイラテラル協力
- 日本の審査結果を参照した相手国での迅速承認へ

## G 7 長崎保健大臣会合

- 新型コロナウイルス感染症からの「より良い回復」を目指して、将来の公衆衛生危機に対する予防・備え・対応の強化、より強靱、より公平、より持続可能なユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC）の達成への貢献、それらを下支えするためのヘルス・イノベーションの促進について、G 7 の方向性及び行動について発信する。

### <大臣会合の概要>

- 日程：2023年5月13日（土）・14日（日）
- 開催地：長崎県長崎市
- 会場：出島メッセ長崎

開催地の長崎市は、貿易港として古くから海外との交流が盛んであり、日本における西洋医学伝来の地です。また、高度感染症研究センターや熱帯医学研究所を有する長崎大学を中心に、世界の医療・公衆衛生分野の発展に貢献してきた実績を持ち、国際保健分野の諸課題についての議論を行うにふさわしい街です。



出島メッセ長崎



長崎港の夜景

### <議題（案）>

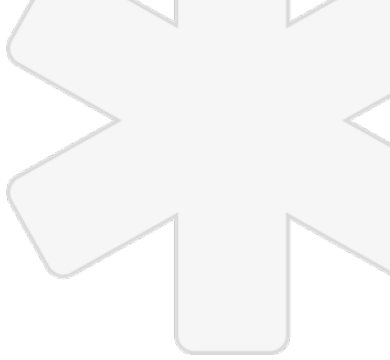
以下3点を主要議題とする。

1. 公衆衛生危機対応のためのグローバル・ヘルス・アーキテクチャーの構築・強化
2. 保健システムの強化を通じたより強靱、より公平、より持続可能なユニバーサル・ヘルス・カバレッジ達成への貢献
3. 様々な健康課題に対応するためのヘルス・イノベーションの促進

（※）ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ

（Universal Health Coverage（UHC））

全ての人が適切な予防、治療、リハビリなどの保健医療サービスを、支払い可能な費用で受けられる状態



## Part 2 Dialogues

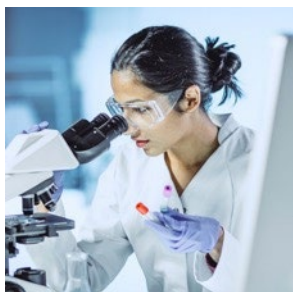
**“The importance of continuously seeking for innovations and expectations for the future”**



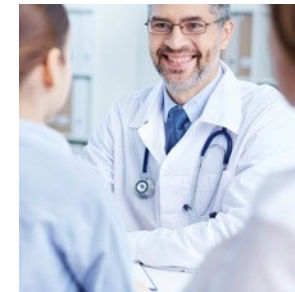
European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

# Closing Remarks

Mr. Takahiko Iwaya, President and Representative Director, Sanofi K.K.



**Chair of EFPIA Japan**



The END  
See you again!

終了  
ありがとうございました。

