

第2回 革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品  
創出のための官民対話

# 革新的再生医療等製品の創出に向けて

2020年11月16日

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

# 国内で承認された再生医療等製品

2007/10/29

ヒト細胞加工製品 01 ヒト体細胞加工製品  
ヒト（自己）表皮由来細胞シート

指定再生医療等製品 **ジェイス**

**ジェイス**  
自家培養表皮



2012/7/27

ヒト細胞加工製品 01 ヒト体細胞加工製品  
ヒト（自己）軟骨由来組織

再生医療等製品 **ジャック**

**ジャック**  
自家培養軟骨

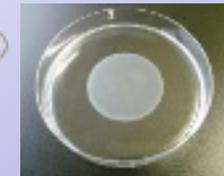


2015/9/18

ヒト細胞加工製品 2 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート

再生医療等製品 **ハートシート**

HeartSheet



2015/9/18

ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞

指定再生医療等製品 **テムセルHS注**

**テムセルHS注**



2018/12/28

ヒト細胞加工製品 02 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞

再生医療等製品 **ステミラック注**



2019/3/26

ヒト細胞加工製品  
チタゲンレクルユーセル

再生医療等製品 **キムリア** 点滴静注

**キムリア**



2019/3/26

再生医療等製品 01 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）軟骨由来組織

再生医療等製品 **コラテジェン** 筋注用 4mg

**コラテジェン**



2020/3/19

再生医療等製品 01 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）軟骨由来組織

再生医療等製品 **ゾルゲンスマ** 点滴静注

**zolgensma**  
idoximexpre  
0.5g/100mL  
0.5g/200mL



2020/3/19

ヒト細胞加工製品 02 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）角膜縁部由来角膜上皮細胞シート

指定再生医療等製品 **ネピック**

**ネピック**  
自家培養角膜上皮



# 再生医療等製品の特徴と課題

## 再生医療

自家細胞利用  
手術手技を要する  
生着により持続的効果を期待する。

2012/7/27

ヒト細胞加工製品 01 ヒト体細胞加工製品  
ヒト（自己）軟骨由来組織

2015/9/18

ヒト細胞加工製品 2 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート

患者からの原料組織の採取が必須  
移植手技に術者の熟練が必要  
効果持続期間の評価が困難  
製品によっては医療機関で調整を要す

## 細胞治療

他家細胞利用  
注射・点滴  
一過性の効果期待

原料の調達が必要

## 細胞治療

自家細胞利用  
注射・点滴  
効果の持続期間は異なる

原料細胞の医療機関での調整が必要

## 遺伝子治療

細胞使用せず  
注射・点滴  
長期間の持続的効果を期待する。

医療機関内でのカルタヘナ法対応が必要

2020/3/19

ヒト細胞加工製品 02 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）角膜輪部由来角膜上皮細胞シート

指定再生医療等製品 **ネピック**



# 革新的製品の創出の加速が期待される取り組み

## イノベーション創出 に向けた環境整備

### ① 臨床データの利活用

レジストリを治験対照群として活用しうる環境整備

### ② 国内外での商業利用を見据えた細胞調達システムの構築

国内における同種細胞の安定供給の早期実現

### ③ 再生医療に係る規制調和の推進

国際的な規制調和（生原基、カルタヘナ法等）の推進

### ④ 再生医療に係る規制制度の海外への訴求

わが国の優れた規制制度（先駆け審査承認制度、条件及び期限付承認制度等）の価値・意義を海外へ訴求

## イノベーションの 適正な評価

### ⑤ 製品価値を適切に価格へ反映する仕組み

製品の特殊性を加味し、医療上の価値を適切に反映した柔軟な算定ルールの創設

### ⑥ 医療機関での体制整備等の対価を適切に反映する仕組み

医療機関での体制整備、調整・手技等に見合う対価を適切に反映する仕組みの創設

# 參考資料

## ① 臨床データの利活用

- 現在の患者登録システム（レジストリ）は、製造販売後臨床調査や安全性対策等の利活用が限定的である。一方で再生医療等製品による治療対象となる疾患は、対象患者が少ない等の理由で二重盲検比較試験が困難であるケースもあり、リアルワールドデータの利活用が望まれる。CIN構想を推進し、早期にレジストリを治験の比較対照群として利活用できるような環境を整備いただきたい。
- 再生医療レジストリへの医療機関および患者さまの協力（同意）が十分に得られておらず、適切な収集・活用ができていない。日本医学会・日本再生医学会のみならず、厚生労働省のさらなる協力をお願いしたい。

## ② 国内外での商業利用を見据えた細胞調達システムの構築

- 既存の同種（他家）細胞調達の仕組みは、商業利用を前提として構築されておらず、使用時に改めて全ての細胞提供者から同意を取り直す必要がある。現在は上市品においても海外から提供を受けているが、国内における同種細胞の安定的な供給は、地政学的リスク低減の観点からも重要であることから、健常人ドナー含めた商業利用を見据えた細胞調達システムを早期に構築していただきたい。

### ③ 再生医療に係る規制調和の推進

- 現在、厚労省、PMDAが中心となり、アジア各国との規制調和を推進していただいている。本邦発の再生医療等製品の価値を最大化できるよう、引き続き国際的な規制調和（特に生物由来原料基準、カルタヘナ法等）を推進いただきたい。

## ④ 再生医療に係る規制制度の海外への訴求

- 国内外の革新的なシーズの国内開発推進の資するよう、わが国の優れた規制制度（先駆け審査承認制度、条件及び期限付承認制度等）の価値・意義を諸外国に正しく理解してもらうため継続的に情報発信するとともに、さらなる制度の改良・改善をお願いしたい。

## ⑤ 製品価値を適切に価格へ反映する仕組み

- 企業においては、価格予見性が向上することで新製品の研究開発や製品の導入が促進され、患者さんへより多くの選択肢を提供出来るようになることも期待される。
- 再生医療等製品と言っても、自家、他家、遺伝子、細胞治療等々さまざまな医療技術があり、製造方法や流通方法等は既存の医薬品や医療機器とは異なる。また今後の技術革新も大いに期待されることから、**画一的な算定方法ではなく、その製品のその特殊性を加味し、医療上の価値を適切に反映した柔軟な算定ルールの創設**をお願いしたい。
- **まずは、中医協内に再生医療等を検討する専門部会などの組織の創設**をお願いしたい。

## ⑥ 医療機関での体制整備等の対価を適切に反映する仕組み

- 再生医療等製品の品質を担保するために、病院では人員・機器などの体制を整備し、遺伝子治療製品におけるカルタヘナ対応など製品に応じた適切な対応を取る必要があるにもかかわらず、医療機関における行為に対する診療報酬が付いていない。
- 医療機関に対する診療報酬上の手当てが十分ではないことが、再生医療等製品の提供の機会を阻み、再生医療の成長・発展の障害となっているのではないかと考える。
- **医療機関での調整・手技等を適切に反映する仕組みの創設を、お願いしたい。**