

2021年5月17日

第4回 革新的医薬品創出のための官民対話

資料 3 - 5

革新的再生医療等製品の創出に向けて

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

代表理事会長 富 賢一郎

革新的再生医療等製品創出の加速に向けた提言

イノベーション創出に向けた研究開発環境の整備

論点	① 医療データの統合的デジタル化の推進	② 細胞調達エコシステムの構築並びに、適切な品質管理の検討	③ 再生医療に係る規制調和の推進
現状の認識	<ul style="list-style-type: none"> ➤ レジストリの治験対照群としての活用も含め、リアルワールドデータの利活用は不十分 	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 他家細胞の原材料は輸入に頼っており、地政学的リスクを内在 ➤ 現行の品質検査は製造原価の増加の一因 	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 生原基、カルタヘナ対応等は国内外で運用が異なる部分が存在し、グローバル治験に日本が参画する上での障壁
提言	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 承認申請に耐える高質なリアルワールドデータの利活用に向けた環境整備を、継続検討する必要がある 	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 国内に安定供給の早期実現が必要である ➤ 適切な品質管理の在り方を検討する必要がある 	<p>運用改善や可能な範囲での規制調和の推進を継続検討する必要がある</p>

革新的再生医療等製品創出の加速に向けた提言

イノベーションの適切な評価

論点	① 製品価値を価格へ反映する仕組みの検討	② 医療機関での体制整備等に見合う対価提供の検討
現状の認識	<ul style="list-style-type: none">➤ 現行の原価計算方式は、再生医療等製品の製造コストや医療上の価値反映が不十分で、再生医療等製品だけで次の研究開発原資を得る事は困難	<ul style="list-style-type: none">➤ 再生医療等製品を取り扱う医療機関における体制整備、細胞調整・投与手技等に見合う対価が不十分
提言	<ul style="list-style-type: none">➤ 中医協にワーキンググループ等を設置し、産学官で新たなルールを早急に検討する必要がある➤ 産業育成の観点から国の支援の在り方も今後検討が必要ではないか	<ul style="list-style-type: none">➤ 細胞製造・調整に関し国際標準に準拠した医療機関を戦略的に設置し、体制整備への対価を支払うような仕組みを検討する必要がある➤ 現行の手技料の見直しも必要ではないか

參考資料

わが国の再生医療等製品

※表中のロゴは各社HPより転記

販売名	適応症	上市年	償還価格
ジェイス 	広範囲熱傷の治療	2007	一連につき50枚を限度として算定 (参考) 27枚 8,618,000円
ジャック 	外傷性軟骨欠損症、離断性骨軟骨炎の臨床症状緩和	2012	1治療あたり 2,165,000円
ハートシート 	重症心不全の治療	2015	標準的使用方法 (5枚) 15,030,000円
テムセルHS注 	急性移植片対宿主病 (急性GVHD) の治療	2015	標準的使用方法 (16バッグ) 14,156,272円
ステミラック注 	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善	2018	1回分 15,234,750円
キムリア 	急性リンパ芽球性白血病等	2019	1治療 34,113,655円
コラテジェン 	慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善	2019	1治療分 (2回投与) 1,222,956円
ゾルゲンスマ 	脊髄性筋萎縮症の治療	2020	1患者あたり 167,077,222円
ネピック 	角膜上皮幹細胞疲弊症の治療	2020	1患者あたり 9,750,000円

※イエスカルタ (第一三共)、ブレヤンジ (BMS)は承認済であるが、上市前の為に未掲載、キムリア (ノバルティス) の薬価は5月現在

わが国の再生医療等製品



※表中のロゴ及び売上高は各社HPより転記

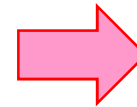
販売名	適応症	上市年	売上
ジェイス 	広範囲熱傷の治療	2007	2020年3月期 9.1億円
ジャック 	外傷性軟骨欠損症、離断性骨軟骨炎の臨床症状緩和	2012	2020年3月期 4.2億円
ハートシート 	重症心不全の治療	2015	非公表
テムセルHS注 	急性移植片対宿主病（急性GVHD）の治療	2015	2020年3月期 31.3億円
ステミラック注 	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善	2018	非公表
キムリア 	急性リンパ芽球性白血病等	2019	非公表
コラテジェン 	慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善	2019	2020年12月期 0.4億円
ゾルゲンスマ 	脊髄性筋萎縮症の治療	2020	2020年3月期 発売前
ネピック 	角膜上皮幹細胞疲弊症の治療	2020	2020年3月期 発売前

再生医療等製品を開発するための制度上の課題

◆ 諸外国で実施するもわが国で実施しにくい内容

➤ Randomized Control Trial (RCT)

- ー国民皆保険に起因する一般的事項
- ー再生医療等に特有の事項
 - ・ 組織採取/細胞調整等のプロセス実施
 - ・ 他に治療法がない医療という意味
 - ・ 評価手法が定まっていない



○リアルワールドデータの利活用
○レギュラトリーサイエンスの発展

再生医療等開発のための環境整備

◆ 諸外国とわが国で運用が異なるとされている内容

➤ 生物由来原料基準などの原材料の基準および規格等

厚生労働省「革新的医療機器等国際標準獲得推進事業（2017-19年度）」の検討結果も踏まえ、速やかな運用改善及び見直しが必要。

➤ カルタヘナ対応

日本では治験開始前に詳細情報を要求されるため、グローバル試験に日本が参画する際の障壁となりかねず、運用改善及び見直しが必要。

再生医療等製品の特徴

特徴

- 再生医療等製品は、新しいアプローチにより治癒が期待でき、今まで治療不可能であった疾患を治療可能とする等、既存の治療概念を大きく変える可能性がある
- 再生医療等製品は単回投与・移植等により、効果が長期にわたり持続する可能性があり、患者さん及び医療従事者等にもたらすベネフィットが大きい
- 再生医療等製品は、ヒトの細胞に培養等の加工を施したもの（同種細胞、自家細胞、体性幹細胞、iPS/ES細胞等）及び遺伝子治療を目的としてヒトの細胞に特定の遺伝子を導入して使用するものなどの多様性があり、各々製造工程・品質管理が異なる上、対象患者数が限られる場合が多い

コストの特徴

- ロットを構成しない自己細胞由来製品や1ロットの製造量が限定される再生医療等製品では、技術的にスケールメリットを得にくい
- 生きた細胞や組織（凍結保存も含む）を製品として使用するため、製品の品質を保持するための設備、製造過程・出荷時における多様な検査、保管や輸送に関するコストを要する
- 製品化には、細胞培養等において高度な技術を習得した人材の育成・確保が必要である
- 細胞の培養、分化誘導方法等も含めた複数の知財を利用するため、高額な技術ライセンス料が必要である
- 製造施設・設備機器の転用が極めて困難である

再生医療等製品の原価計算方式における要望

➤ 再生医療等製品のコスト構造は医薬品とは異なり、原価計算方式で再生医療等製品に特徴的な経費については、すべて認めていただきたい。

➤ 製品固有のコスト構造に対応した原価の課題

- 再生医療等製品では、医薬品と同様の評価試験の実施、開発期間/費用、市販後の安全管理が求められている。また、**医薬品以上に品質の均一性に配慮が求められるが、費用が認められていない事例がある。**（例えば、製造過程ごとに高コストの工程内検査が課せられている。）
- 再生医療等製品の特徴的な費用は個々の製品によって大きく異なり、**特に製造設備は当該製品専用**である。しかしながら、製造に必要な設備費用が認められていない事例がある。
- 再生医療等製品の算定は医薬品の事例、特定保険医療材料の事例があるが、いずれの例に倣っても**再生医療等製品の供給に必要なコスト、製品の価値を十分に反映できないことがわかってきた。**

再生医療等製品のイノベーション評価に関する要望

➤ 再生医療等製品については、保険収載時には製品の特性上、限定的な評価しか得られなかった場合、保険収載後に追加エビデンスが得られた段階で再度評価できるような新たな仕組みを導入いただきたい。

- 再生医療等製品の使用対象患者は極めて少ないことから、臨床試験デザインや症例数設定において制限を受けざるを得ず、その結果、エビデンスレベル等の観点により保険収載時の評価が限定的となる場合がある。
- 再生医療等製品は、単回投与で長期間効果が持続するものが多いが、保険収載時には限られた試験期間における有効性データで評価されることなど、再生医療等製品が有する真の価値を保険収載時点では適切に評価することが困難な場合が多い。
- 現行ルールでは収載後に再生医療等製品が有するイノベーションを適切に評価できる仕組みがあるとは言い難い。

再生医療等製品の価値を反映させるための新たな算定方式

- 再生医療等製品は、治療効果が長期に亘って持続する等、既存の治療概念を大きく変える可能性があるが、現状の算定方式ではこれらの多面的な価値を十分に価格に反映できない制度上の限界が存在する。
- 上記の点を踏まえ、製品固有の価値を企業自らが立証し、再生医療等製品が持つ本質的な価値を柔軟に価格に反映できる新方式を提案したい。

再生医療等製品の本質的な価値を柔軟に反映できる算定方式(イメージ)

