

2024年11月21日（木）

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資料

資料3－5

イノベーションの推進に向けた今後の方策について

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 志鷹 義嗣

再生医療関連の環境分析



日本の強み

- 再生医療等製品の急増（21-23年11製品承認）
- iPS細胞製品の研究開発の進展
- 薬事承認後の保険償還（患者アクセス）

- ドラッグラグ・ロスの拡大
- 中国企業による遺伝子治療製品の開発



脅威



日本の弱み

- スタートアップへの投資（海外の数十分の一・後期フェーズ）
- バイオものづくりの谷（製造人材・遺伝子製造拠点等）
- 治験環境・規制（欧米と異なる基準）
- 価格制度（イノベーションの評価）

- 欧米での再生医療製品数の急増（23年USで7製品承認）
- 海外での新しい支払い方式（成功報酬型）の検討
- 台湾での再生医療関連法の整備
- アジア企業（スタートアップ等）の日本進出



機会

SWOT
Analysis

イノベーションの推進に向けて期待する今後の方策

成長戦略としての再生医療産業支援

世界的に見て日本が強みを有する再生医療は、**従前の治療概念を覆すゲームチェンジャー**となり得るモダリティとして健康寿命の延伸など国民の健康増進に貢献をするとともに、関連企業の裾野も広く日本経済の成長エンジンとして期待される分野の1つである。それらの実現に向け、ヒト・モノ・カネが有機的に結びついた**再生医療エコシステム**を構築するとともに、研究開発投資を回収し**次のイノベーションへ再投資**ができる環境を速やかに整備する必要がある。

1. 産業化支援

日本発の革新的治療の上市・普及に向け、バリューチェーンを通した再生医療エコシステムを構築すべきである。

- アカデミア、スタートアップがバイオものづくりの谷を越えうる、細胞・ベクターの**国内製造に係る自動化等の技術支援体制**の構築
- 日本発の成功事例を生み出す、**初期から後期まで切れ目ない投資・伴走支援環境**の整備
- 再生医療の**多様性を踏まえたルールや評価方法**の策定、並びに、**国際的な標準化や規制調和**の推進

2. 医療保険制度改革

持続可能な医療保険制度を整備しながらも、従前の治療概念を覆す再生医療等製品は、大きなリスクに備える互助システムである国民皆保険制度で担い、革新的な治療へのアクセスおよび医療の質の維持向上を実現すべきである。

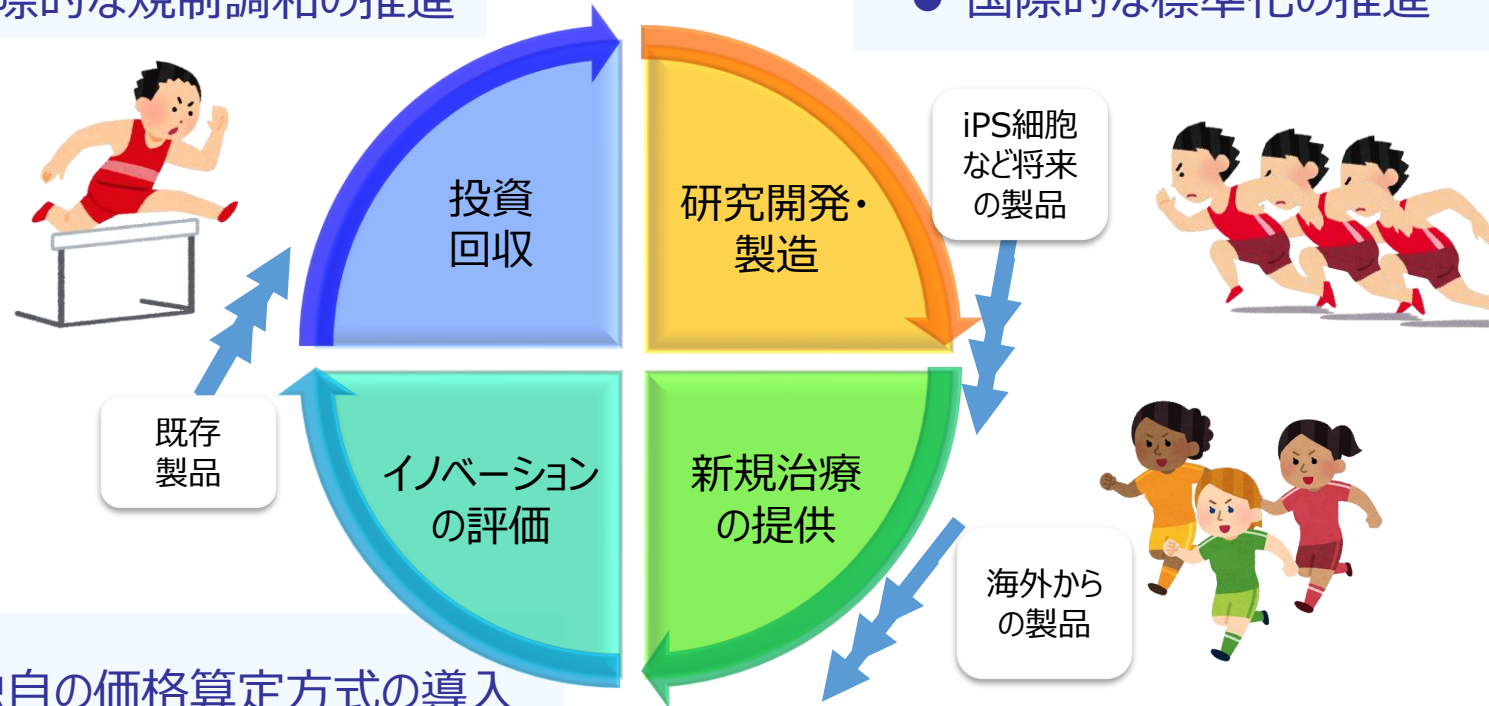
- 再生医療等製品のイノベーションを適切に評価しうる**新たな価格算定の仕組み**の速やかな導入
- 再生医療等製品の提供体制を構築する**医療機関への適切な対価・支援**の提供
- **早期患者アクセス**のために、条件及び期限付承認された再生医療等製品の公的医療保険適用の継続

※再生医療等製品：薬機法下で臨床試験を行い薬事承認された製品（8ページ参照）

まとめ：イノベーションの推進に向けた施策

- 国際的な規制調和の推進

- 国内製造に係る自動化等の技術支援体制構築
- 切れ目ない投資・伴走支援環境の整備
- 国際的な標準化の推進



- 再生医療等製品独自の価格算定方式の導入
- 医療機関への適切な対価・支援の提供

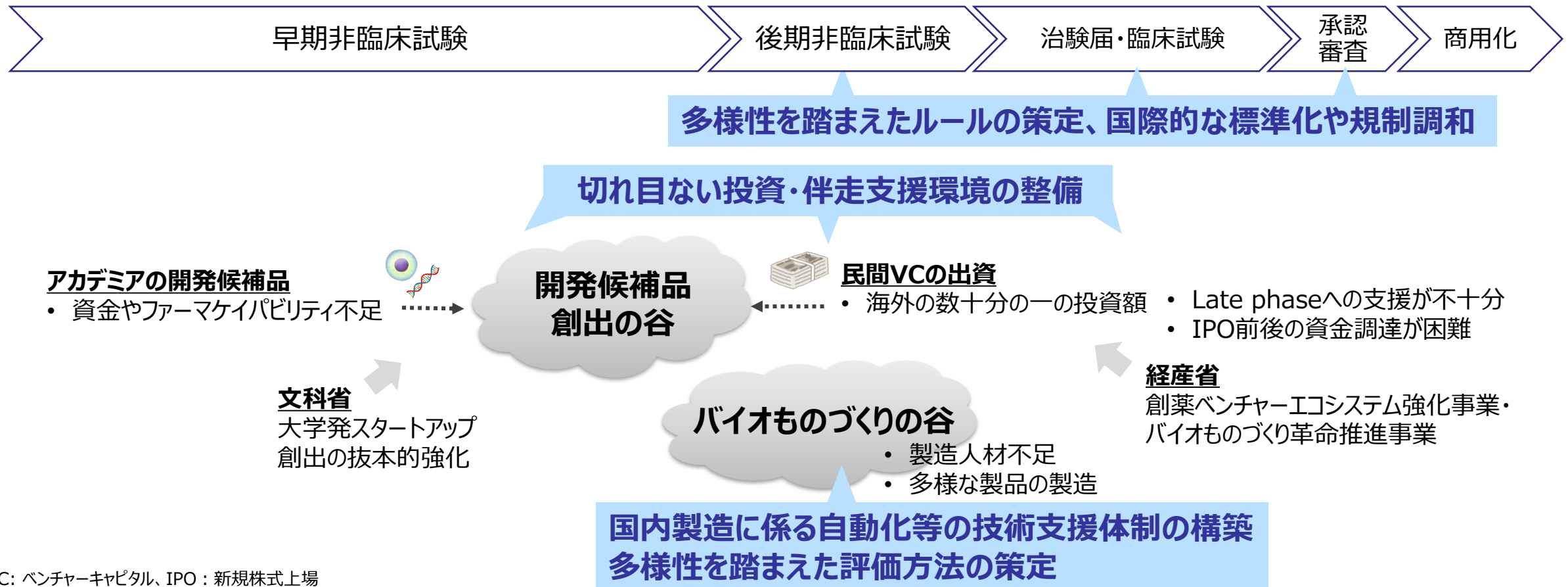
- 多様性を踏まえたルールの策定
- 早期の患者アクセスの継続（条件・期限付き製品を公的医療保険で担う）

参考資料

1. 産業化支援

日本発の革新的治療の上市・普及に向け、バリューチェーンを通じた再生医療エコシステムを構築すべきである。

- アカデミア、スタートアップがバイオものづくりの谷を越えうる、細胞・ベクターの**国内製造に係る自動化等の技術支援体制**の構築
- 日本発の成功事例を生み出す、**初期から後期まで切れ目ない投資・伴走支援環境**の整備
- 再生医療の**多様性を踏まえたルールや評価方法**の策定、並びに、**国際的な標準化や規制調和**の推進



2. 医療保険制度改革

持続可能な医療保険制度を整備しながらも、従前の治療概念を覆す再生医療等製品は、大きなリスクに備える互助システムである国民皆保険制度で担い、革新的な治療へのアクセスおよび医療の質の維持向上を実現すべきである。

- 再生医療等製品のイノベーションを適切に評価しうる**新たな価格算定の仕組み**の速やかな導入
- 再生医療等製品の提供体制を構築する**医療機関への適切な対価・支援**の提供
- **早期患者アクセス**のために、条件及び期限付承認された再生医療等製品の公的医療保険適用の継続

項目	具体例	対応
再生医療等製品の「特徴」 多様なモダリティで構成される 価値に反映すべき「特長」	■ 疾患を根治できる（臨床的・直接的） ■ 介護から解放（臨床的・間接的） ■ 難病患者が疾患から解放（倫理的） ■ 生産性損失が軽減され保険料収入や税収も増加（経済的） ■ 革新性の高いモダリティの実用化が進むことで、将来の国内産業発展に貢献する（産業的）	医療費や社会的価値に基づいた価格算定
多様な価値を不確実化させる「特徴」	■ 上市時点では有効性・持続性等のエビデンスを十分に取得できない	既存治療に対する付加価値を上市後にも反映できる仕組み
価値に反映できない「特徴」	■ 製造原価が高い ■ バリューチェーンが複雑（アカデミアや医療機関、多くの周辺産業との連携） ■ 希少疾患など患者アクセスが制限される	・原価計算方式への適切な反映 ・診療報酬の改定 ・条件・期限付承認による早期アクセス

再生医療等製品の特徴・特長を踏まえた独自の価格算定制度が必要

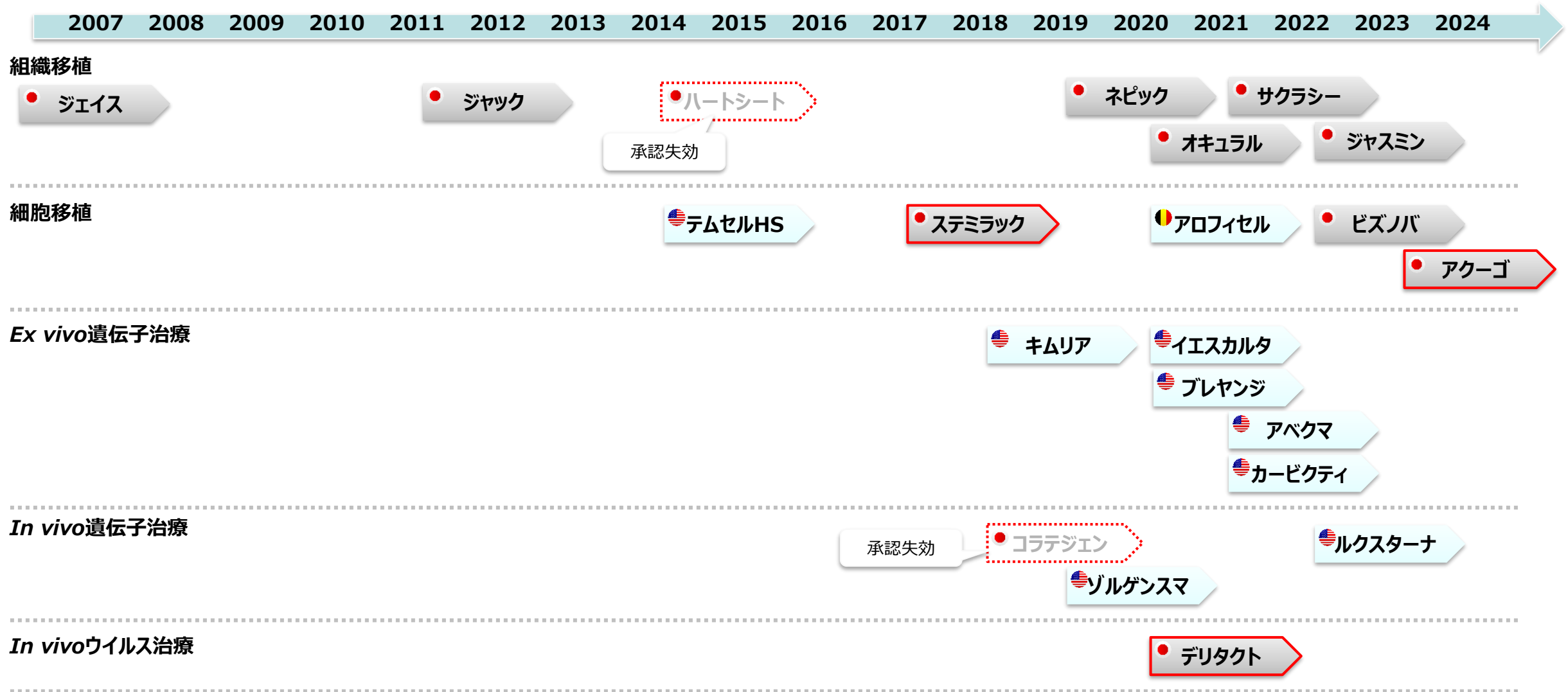
独自制度導入までの暫定的・緊急的な対応策として、再生医療等製品の特徴を現行算定方式に反映すべき

安確法下もしくは薬機法下で提供される再生医療等について



出典：厚生労働省 再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則の改正に伴う説明会資料より改変

再生医療等製品の国内承認状況



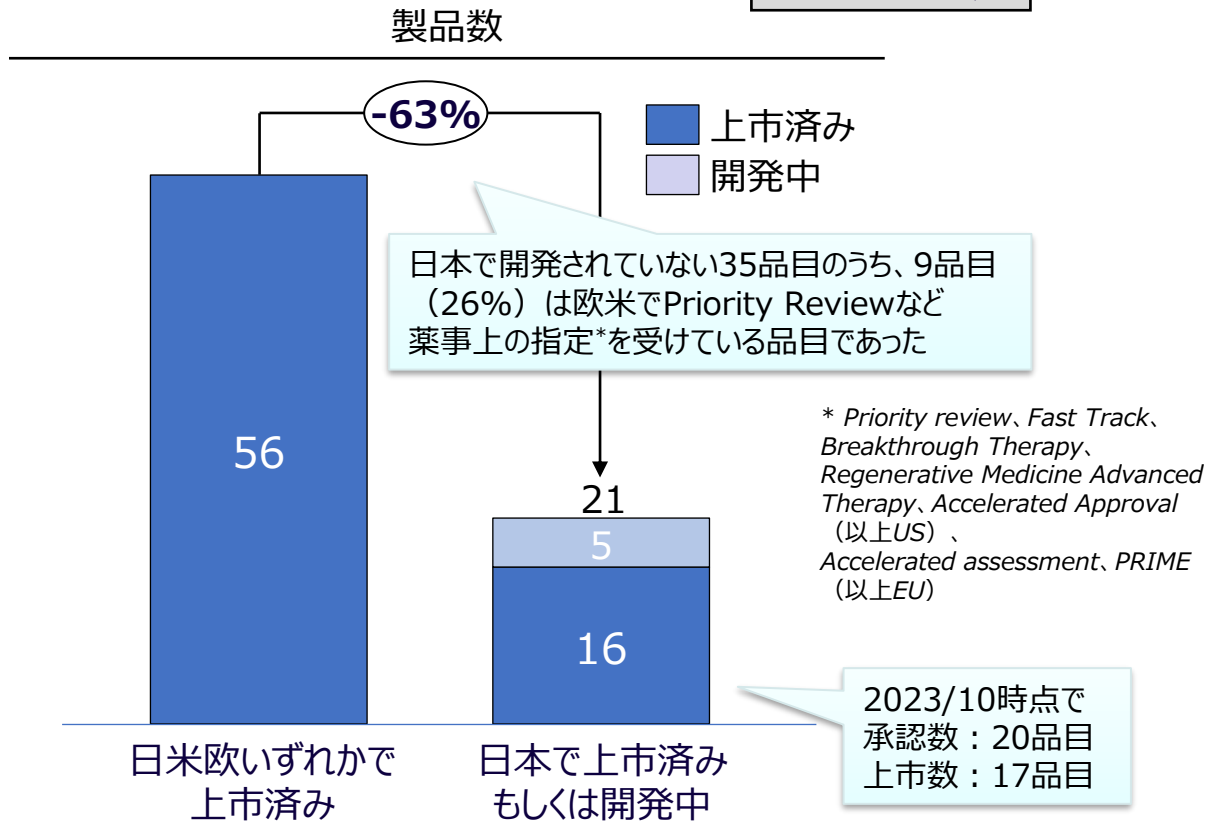
赤枠: 条件及び期限付承認

日米欧での再生医療等製品の上市・開発状況

- 日米欧既承認の再生医療等製品の内、63%は本邦では開発されていない*1
 - 欧米でP3実施中の再生医療等製品に関し、日本でも開発が行われているものは2割に満たない
- *1 欧州はEUとUKとスイス

日米欧で承認済み製品の日本での上市・開発状況

2023年2月時点



欧米でP3実施中の再生医療等製品の日本国内での開発状況

2023年3月時点

