

別紙

再生医療等製品の新たな制度導入までにご対応頂きたい喫緊の課題

2025 年 7 月 9 日 再生医療イノベーションフォーラム

再生医療等製品の研究開発から医療機関における投与まで、既存の他のモダリティ医薬品と大きく異なる特長・特徴が認められている。新たな価格算定方式が実現されるまでの期間、以下の点について、再生医療等製品の価格算定にかかる緊急的な対応をお願いしたい。

1. 原価計算方式について

(背景)

再生医療等製品は、個別化製造（1 患者 1 製品等）や細胞培養の継代上限、短い使用・有効期限等の結果、少量生産となり、従来医薬品のような大量生産は困難である。従って、スケールメリットが得られず、また、希少疾病を適応とし、対象患者は少ないため回収できる収益も限定的である。再生医療等製品の特徴について、従来医薬品との違いを以下に説明する（陳述資料 5 ページ参照）。まず、日本の規制が障壁となり、例えばカルタヘナ法への対応等様々な費用が発生し、また多くの特許が組み合わさることでライセンス料が増加する。研究・開発・製造において、細胞の取扱いなど高度で専門的な人材が必要で、企業が育成する必要性が高い。製造においては高額な原材料（GMP レベルのベクター、培地など）をはじめ、様々な周辺産業との連携と委託が必要である。モダリティごとの GCTP 省令に準拠した専用設備への投資が必要である。細胞や遺伝子の均質化は困難であり、品質検査の使用量が大きな割合を占め、かつ従来医薬品と比較し検査費用が高額になる（多様かつ多段階の品質保証試験で検査費用の単価も高額）という特徴がある（陳述資料 16 ページおよび参考資料 1 参照）。また、出発物質が患者細胞やドナー細胞といった生体試料である場合、患者の前治療歴や容体、微生物汚染等の予期せぬ要因によって生体試料が製造品質を満たさないロスが生じうる。流通について、生きた細胞の輸送には超低温での保管や輸送、免振輸送など専用の輸送インフラが必要である。医療機関の提供において医師の手技に依存するため、講習費用等は企業が負担し、長期的な運用をサポートしている。

これらに対し、現行算定制度では、再生医療等製品の原価計算に積上げ不可と判断される費用が多く存在している。

(提案)

原価計算方式において、再生医療等製品特有の費用負担、必要な委託費用を適切に反映できる制度運用をご検討頂きたい。

2. 類似薬効比較方式について

(背景)

再生医療等製品は、長期の有効性及び安全性を特長とする。一方、価格が臨床試験の最終段階のデータに基づいて決定され、既存の比較薬との薬価合わせが行われる場合、観察期間が短いためにこの特長が十分に評価されず、その価値が過小評価される懸念がある。Phase1 や Phase2、長期投与継続試験のデータを用いた価格算定を可能とする運用を

明確にすることで、この特長を価格算定に反映させることが可能となる。また、早期に上市する場合においても投資回収が可能なビジネス環境を整備し、再生医療等製品の日本における早期上市の推進を後押しすることができる。

(提案)

長期の有効性及び安全性を有する再生医療等製品の特長に鑑み、再生医療等製品が類似薬効比較方式で薬価が算定される際には、有効性及び安全性を有する期間における薬剤費合わせて薬価算定をする運用としていただきたい。その際の期間については、上記特長を鑑み、臨床試験のフェーズにかかわらず、有効性及び安全性を評価するのに十分な期間にわたって患者を観察している臨床試験データを用いて算出することを検討いただきたい。

3. 補正加算について

(背景)

再生医療等製品は、単回による治療で長期的有効性・安全性を有し、無治療期間を提供するため、臨床的・社会的価値が高い。この特長を評価するためには有用性加算の新しい要件が必要であり、投与回数の減少、投与間隔の延長、または投与期間の短縮など利便性の向上とは明確に区別されるべきである。また、こうした特長が製品ごとの異なる製造技術の効果であると説明できる場合は、同モダリティであっても新規作用機序として柔軟な評価が必要である。さらに、上記のような有用性系加算の評価は価値に基づいて行われるべきであり、再生医療等製品のみが単価や市場規模に着目され、実際に適用される加算率を減ずることは合理的な根拠がなく、イノベーションの評価という方向性にも逆行する。

(提案)

単回による治療で長期的有効性・安全性を有する製品を評価しうる、新たな有用性加算要件を確立いただきたい。また、価格が 1,000 万円かつ売上 50 億円を超える再生医療等製品の補正加算における傾斜配分のルールを廃止いただきたい。

4. 市場拡大再算定について

(背景)

再生医療等製品は、個々の患者に対応した製造・流通を行う個別化製造の製品（1 患者 1 製品の自家細胞）や培養継代上限、非常に短い使用・有効期限等の特徴により、従来医薬品のような大量生産は困難である。製品の販売数量が増加した場合は、単に少量生産を繰り返した結果であり、再生医療等製品は販売数量増加に伴うスケールメリットは得られない（陳述資料 16 ページ及び以下参考資料 2 参照）。また、原価計算方式の項で述べたように、製造工程は複雑かつ高コスト構造である。こうした製品に対して一度でも市場拡大再算定が適用された場合、容易に不採算に陥る可能性があり、患者アクセスの継続が困難になる可能性がある。日本の価格制度や為替変動等の影響によって、研究開発、国内での製造と専門的な供給体制（CMO/CDMO を含む）への継続的投資が困難となり、産業の発展を妨げる状況は回避すべきである。世界的な供給が限られる中、日本の患者に対する既存及び新規の再生医療等製品の持続可能な供給を確保することは極めて

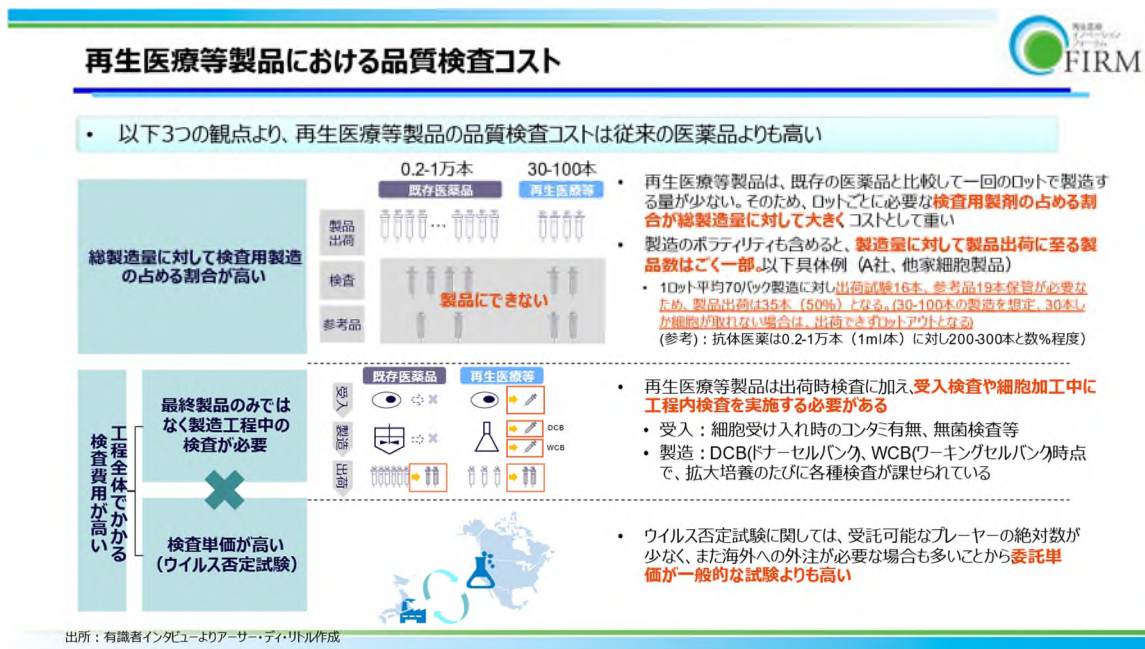
重要である。

(提案)

再生医療等製品の複雑な製造、個別化製造を踏まえ、供給継続が困難になるリスクを避けるため、市場拡大再算定の対象から除外頂きたい。

以上

(参考資料 1)



(参考資料 2)

