

中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会・薬価専門部会・
保険医療材料専門部会 合同部会 意見陳述資料

条件及び期限付承認に関する意見

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)
2025年10月29日

再生医療等製品の特徴

- 既存の**治療概念を大きく変える**可能性がある
- 製品に**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
- 効果が**長期にわたり持続する**可能性がある
- 携わる**医療従事者に大きく影響を受ける**ことや、高度な医療設備を有する医療機関に使用が限定される場合がある
- 製品自体の**シェルフライフ（使用・有効期限）が極端に短く**、出荷から投与されるまでの時間的制約がある
- 製造における**サプライチェーンが複雑**であり、そこには数多くの知財が含まれることが多い

従来の医薬品におけるビジネスモデルとは異なる点が多い



乗り越えるべき課題は多いものの、競争力を発揮できるイノベーションになりうる

条件及び期限付承認について

● 早期患者アクセス

- ・ 重篤な疾患に有用な再生医療等製品の早期実用化を促すための制度

● 均質ではない再生医療等製品

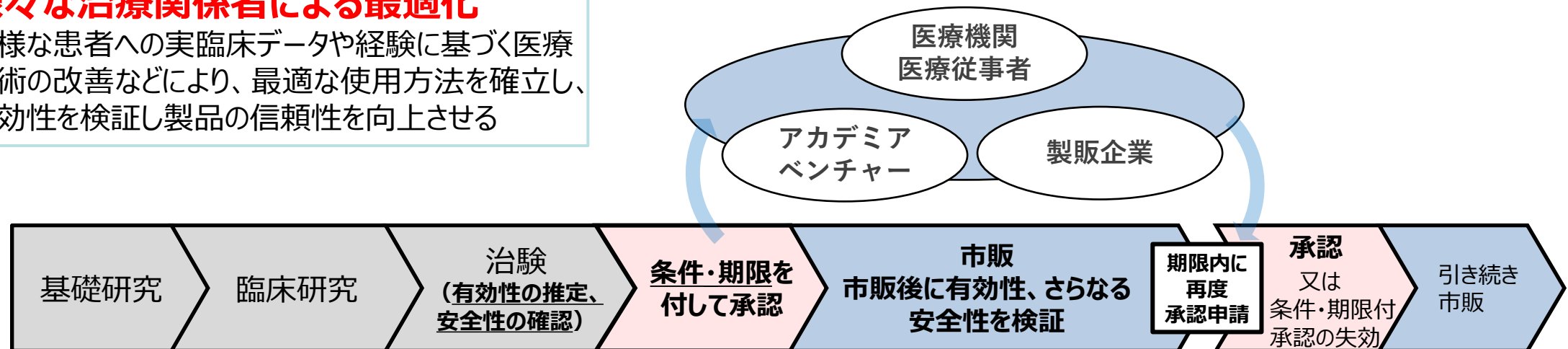
- ・ ヒトから採取した細胞は均一な細胞集団ではなく、培養や分化等の加工によっても形質が変化し、細胞加工製品が均質ではない場合がある
- ・ 体内で遺伝子発現する製品は、薬理作用発現物質の発現量が均質ではない場合がある

● 様々な治療関係者による最適化

- ・ 多様な患者への実臨床データや経験に基づく医療技術の改善などにより、最適な使用方法を確立し、有効性を検証し製品の信頼性を向上させる

● 再生医療の社会実装には、従来の医薬品や医療機器と異なった対応が求められる

- ・ 有効性の発揮には医療機関との適切な連携が重要である
- ・ 長期間におよぶ効果が期待されるため、期間を限った臨床試験では情報が限定的にならざるを得ない
- ・ 多様性に富んでいる。そのため、完成した製品の社会実装への適切性、製品自体の評価方法ならびに臨床結果の評価方法について、上市段階では情報が十分でない可能性がある



製造販売後承認条件評価について

● 再生医療等製品に係る条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンス

再生医療等製品に係る条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンスについて（医薬機審発0329第3号 令和6年3月29日）

- 条件及び期限付承認後の再申請に向けて、本製品の有効性検証を行うことを念頭に入れ、試験の成功確率を高めるために十分な検討を行う
- PMDAの相談制度も活用しながら、個別の製品に固有の特性も十分理解した上で、「合理性のある判断又は評価が達成できない可能性」を最小化する

● 条件及び期限付承認時の情報収集とその活用

- 条件及び期限付承認期間の情報収集は、単に医療情報の集約のみでなく、関連する製造関連情報の集約が重要である。加えて、これら情報の収集方法ならびにその評価方法の適切性を確保する活動も必要である
- 承認取り消し製品の検証こそ重要で、製品の課題、使用方法の課題、検証方法の課題などを明らかにし、経験値として次の製品へ活用する
- パブリックヘルスの観点からも、製造販売後承認条件評価の結果は公開する

条件及び期限付承認制度の改善に向けた業界活動

本制度の重要性や意義を十分に鑑み、製造販売後承認条件評価に対する申請者側の意識を変えるべく、業界として尽力いたします。

そのうえで、業界団体として以下の努力をして参ります。

- 再生医療等製品の実装には、その特性上、医師との円滑なコミュニケーションが極めて重要です。当該企業がこれらを円滑に進めるべく、企業と医師間の連携強化を推進いたします。
- 適切な情報収集をすべく、情報収集方法の妥当性確保、評価方法や解析方法の確立等、関係各位との連携のもとでFIRM内にこれらを支援する仕組みを構築いたします。
- パブリックヘルスや透明性の観点から、情報開示の強化は極めて重要です。これらを円滑に推進する環境構築について、業界として尽力して参ります。

条件及び期限付の再生医療等製品の価格算定について

＜薬価及び材料価格算定の基本的考え方＞

- 薬価及び材料価格算定の原価計算について、一般管理・販売費、営業利益率、流通経費の係数についてどう考えるか。
➡ 製品の多様性を踏まえて、製品毎に必要な費用を個別に適切に判断し、算定頂けるようお願いしたい。

＜画期性加算、有用性加算、改良加算について＞

- 薬価算定について、主に薬事承認で用いられた臨床試験成績における評価によって判断される画期性加算、有用性加算の適用についてどう考えるか。
- 材料価格算定について、画期性加算、有用性加算、改良加算の適用についてどう考えるか。

＜画期性加算、有用性加算、改良加算以外の補正加算について＞

- 薬価算定について、希少疾病用医薬品として指定されたものを評価する市場性加算（I）など、画期性加算、有用性加算以外の補正加算の適用についてどう考えるか。
- 材料価格算定について、希少疾病用医療機器として指定されたものを評価する市場性加算（I）など、画期性加算、有用性加算、改良加算以外の補正加算の適用についてどう考えるか。
➡ 条件及び期限付承認は本承認を目指す途上である。一方、重篤な疾患・希少な疾患に対する製品開発を促進するという主旨に鑑みて、少なくとも有用性系以外の加算については、条件及び期限付の承認時にご評価頂きたい。

＜外国平均価格調整について＞

- 薬価収載・新規保険収載時の外国平均価格調整の適用についてどう考えるか。
➡ 本邦での価格を欧米新薬創出国の価格と比較した際に、適正な範囲に収めるべく導入されたものと理解している。引き続きの適用検討をお願いしたい。

条件及び期限付の再生医療等製品の収載後の価格調整について

＜市場拡大再算定について＞

- 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品への市場拡大再算定の適用については、通常の承認を受けた再生医療等製品と同様の取り扱いとすることについてどう考えるか。

＜費用対効果評価について＞

- 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品について、通常の承認を受けた再生医療等製品と同様に費用対効果評価の規定を適用することについてどう考えるか。
 - ➡ 市場拡大再算定及び費用対効果評価について、通常の承認を受けた再生医療等製品と同様の取扱いとしてご検討頂きたい。
(なお、通常承認の際の市場拡大再算定については、別途ご議論頂きたい。)

条件及び期限付の再生医療等製品の本承認時の取扱いについて

＜改めて承認を受けた際の取扱いについて＞

- 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品が改めて承認を受けた際には、その際の審査に用いられた試験結果等に基づき、改めて有用性の補正加算の該当性を評価することとなっているが、他の補正加算も含め、改めて承認を受けた際の補正加算の評価についてどう考えるか。
 - ➡ 条件及び期限付承認時には明らかでなかった医療上の有用性が客観的に示された場合、改めて補正加算の該当性についてご評価頂きたい。

＜改めて承認を受けた後の取扱いについて＞

- 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品が改めて承認された際の費用対効果評価品目の指定についてどう考えるか。
 - ➡ 通常の承認を受けた再生医療等製品と同様の適用*をお願いしたい。

*有用性系加算が適用された品目または原価計算で開示度50%未満の品目かつ、想定される市場規模が規定された額を超える場合（指定難病等、小児のみに使用されるものを除く）

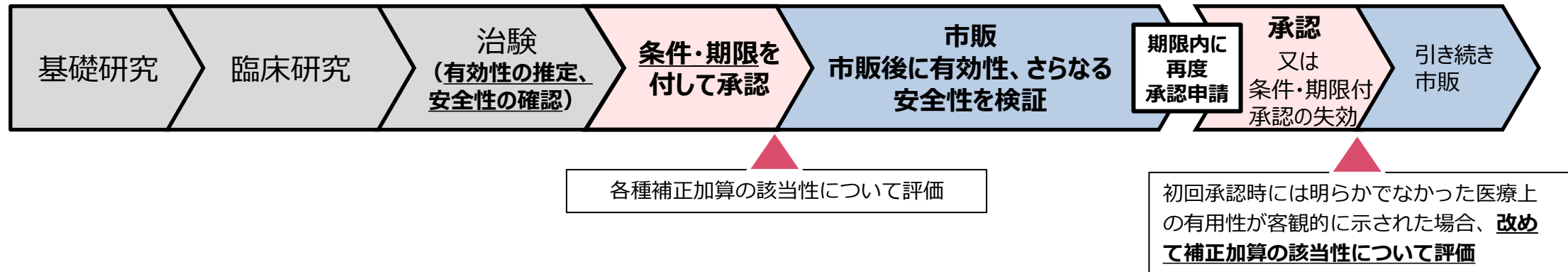
論点に提示された内容ではないものの、条件及び期限付承認制度をより良くするために、以下の様な検討も考えられる

＜製造販売後承認条件評価の結果公開について＞

- 製造販売後承認条件評価の結果は公開されるべきと考えており、評価結果公開の原則義務化に向けた施策（条件及び期限付承認時に誓約書の提出、公費負担がなされたことを勘案した対応等）の検討。

まとめ

- 条件及び期限付承認制度の重要性や意義を十分に鑑み、製造販売後承認条件評価に対する申請者側の意識を変えるべく、業界として尽力して参ります
- 条件及び期限付の再生医療等製品の価格算定について
 - ・ 製品の多様性を踏まえて、製品毎に必要な一般管理・販売費、営業利益、流通経費を個別に適切に判断し、算定頂けるようお願いしたい
 - ・ 有用性系加算以外の補正加算について、重篤な疾患・希少な疾患に対する製品開発を促進するという主旨に鑑みて、引き続き条件及び期限付承認時においてご評価頂きたい
- 条件及び期限付の再生医療等製品の本承認時の取扱いについて
 - ・ 条件及び期限付承認時には明らかでなかった医療上の有用性が客観的に示された場合、改めて補正加算の該当性についてご評価頂きたい



おわりに

- 条件及び期限付承認を得た製品のうち2製品が本承認へ至らないという事態となり、公費を用いてご支援をいただいている中で、このような結果となりましたことを重く受け止めております。条件及び期限付承認制度の趣旨が果たされるよう、今後の製品が本承認へ至るべく、全力で取り組んで参ります。
- 中央社会保険医療協議会 本合同部会でご議論いただいた内容に関して、真摯に対応させていただきます。



Appendix

早期患者アクセスの向上と保険償還

- 再生医療等製品は、今後の医療のあるべき姿を議論する最先端治療の一つ（今後、オルガノイドやバイオプリンティング組織など）
- 社会実装するために、医師や医療の寄与に関する配慮が必要（提供医療の均質化、医療情報の収集と解析、医療側のインセンティブ）
- 多様な再生医療等製品に適した保険制度の在りかた
- 再生医療等製品は高額だが、単回投与や適応が希少疾患などであり、適切なリターン（イノベーション推進）の在りかた

- 新治療手段の早期提供
- ハイリスク領域の推進
（適切なリターン）

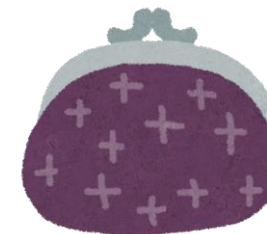
患者アクセスの向上

イノベーションの推進

国民皆保険制度

医療保険制度
保険償還

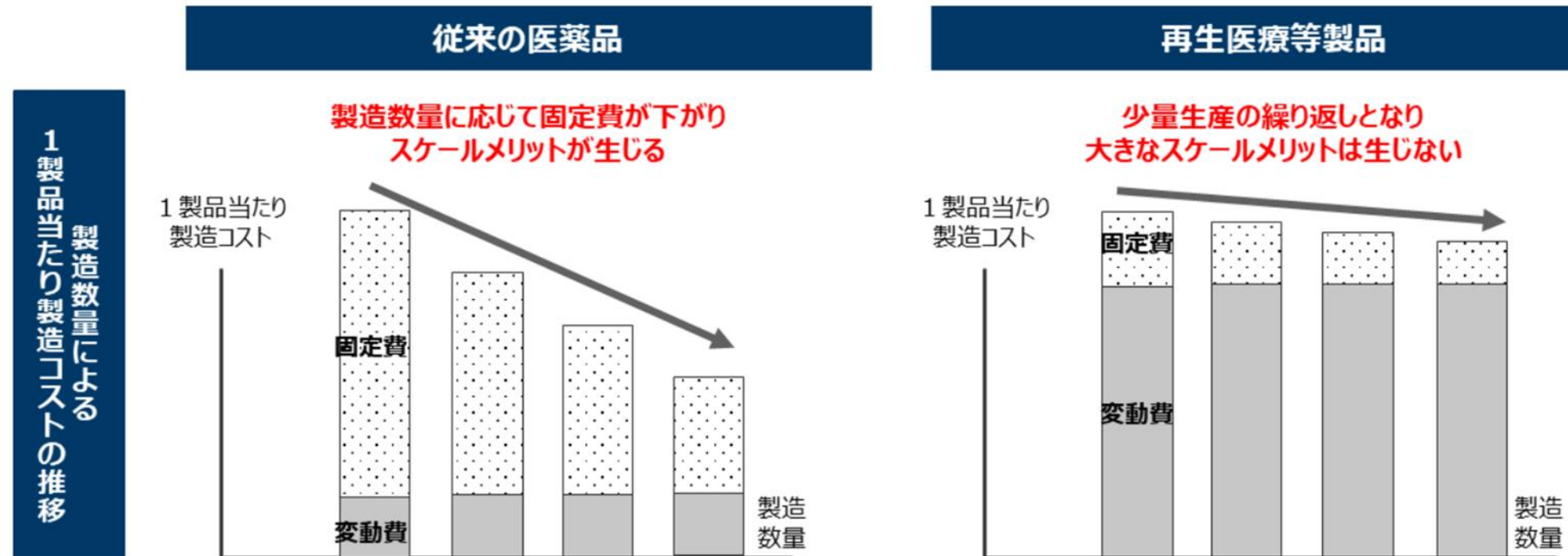
- 持続可能な制度
- 何を保険償還すべき？



再生医療等製品の市場拡大再算定について

- 条件及び期限付きの有無に関わらず、再生医療等製品においては、複雑または個別化された製造工程を必要とし、高度で専門的な設備、人材、品質管理、物流、製造後の運用に多大な費用がかかり、大量生産によるコスト削減が困難であることから、市場拡大再算定の対象から除外頂きたい。

ex vivo遺伝子の事例



図表 3 従来の医薬品と再生医療等製品の製品製造コストと製造数量の関係（イメージ図）