

中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料

再生医療等製品の価格算定に関する意見

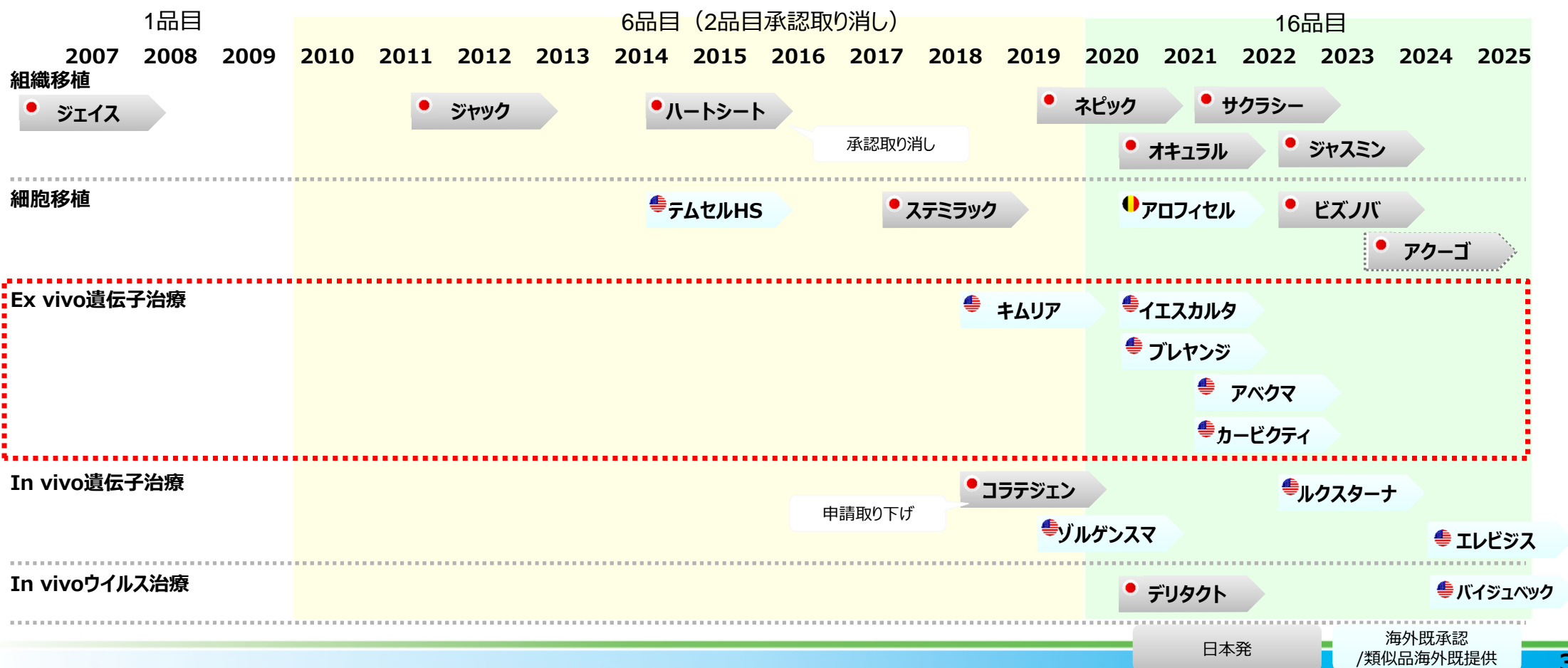
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)
2025年12月10日

令和8年度薬価改定について

令和8年度薬価改定の論点整理において、「再生医療等製品に対する市場拡大再算定の適用のあり方については、再生医療等製品の特徴等を踏まえつつ、次々回薬価制度改革に向けて引き続き議論する」とされており、当団体としても継続した議論にご協力させていただきます。

日本における再生医療等製品の承認は加速度的に増加

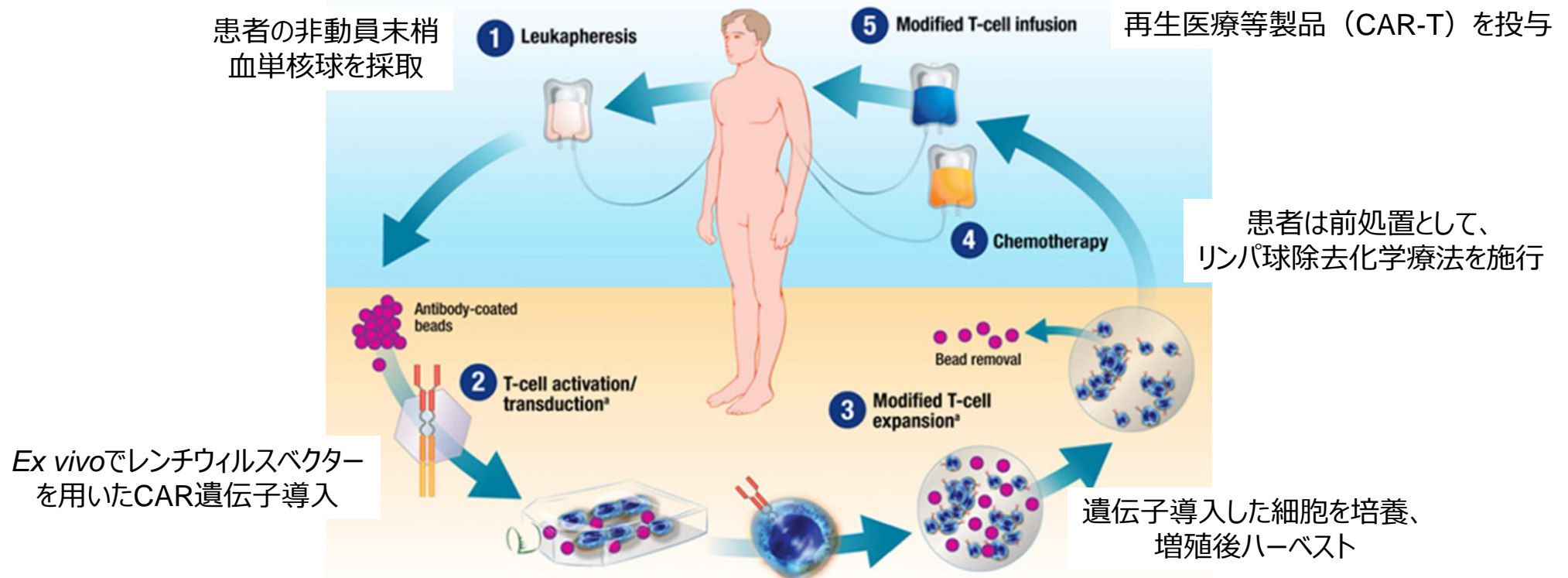
- 本邦で承認された再生医療等製品は2025年12月時点で21品目、近年はその品目数は加速度的に増加
- 今後、iPS細胞製品等、新たな再生医療等製品の承認が想定



再生医療等製品（ex vivo遺伝子治療）による治療の概略

- 患者より採取したT細胞を製造施設にて改変・増殖させ、患者へ投与を行う
- 個別化された治療法であり、既存の医薬品とは異なり、1製品ごとのオーダーメイドとなる

【CAR-Tの例】



出典：キムリア点滴静注 製造承認申請資料より作成

再生医療等製品（ex vivo遺伝子治療）の製造

- 人員：高度な専門知識や熟練技術を有するスタッフが複数名必要である
- 原材料：患者由来細胞による少量からの生産であり、使用する原材料も少量で複雑な製造・輸送・短い保管期間・厳しい品質検査基準が求められる
- 検査：製造する全てのプロセスにおいて、多種多様な品質管理試験が必要となる

ex vivo遺伝子治療の製造例：労働集約的、個別生産



出典：The Cell Therapy Process (BMS Cell Therapy Manufacturing Tour)

バイオ医薬品の製造例：工業的、スケールに応じた生産



出典：https://www.chugai-pharm.co.jp/ptn/medicine/factory/factory002_002.html

再生医療等製品と既存医薬品の違い（特徴の全体像）

- 研究開発から医療機関における投与まで、既存医薬品とは異なる知財、人材、コスト、原材料や専用設備が必要となる
- 患者ごとに個別化された製品もあり、需要が増加しても、1 製造にあたる費用の削減は困難となる
- 希少疾患のため対象となる患者は少なく、多額な投資に対して収益の確保は困難である

		再生医療等製品	低分子医薬品・ バイオ医薬品
研究開発	規制	<ul style="list-style-type: none"> 日本の規制（カルタヘナ等）が障壁 	<ul style="list-style-type: none"> ICH により国際的に調和
	特許	<ul style="list-style-type: none"> 多くの特許が関連（ライセンス料増） 	<ul style="list-style-type: none"> 物質特許で保護
	人材	<ul style="list-style-type: none"> 高度技術を持つ人材が少なく、育成の必要性が高い 	<ul style="list-style-type: none"> 豊富
製造	医療機関	<ul style="list-style-type: none"> 製造の起点として細胞の採材等が必要 	<ul style="list-style-type: none"> －（医療機関で採材は不要）
	製造	<ul style="list-style-type: none"> 高額な原材料（GMPレベルのベクター等）が必要 産業との連携が必要 モダリティごとのGCTP省令に準拠した専用設備投資が必要 大量生産できずスケールメリットが得難い 	<ul style="list-style-type: none"> 設備を同じモダリティに流用可能 関連産業は限られている 大量生産可能で工業的
	品質	<ul style="list-style-type: none"> 細胞や遺伝子の均質化が困難 多様かつ多段階の品質保証試験（マーカー発現、ウイルス検査） 	<ul style="list-style-type: none"> 均質化が容易 品質保証試験は一定程度
流通	輸送	<ul style="list-style-type: none"> 専用の輸送インフラ（-150℃等）が必要 	<ul style="list-style-type: none"> 通常設備で輸送可能
投与	医療機関	<ul style="list-style-type: none"> 専門施設に限定され、医師の手技に依存（講習費用等） 医療機器算定の販管費上限が課題 	<ul style="list-style-type: none"> 広く使用
	対象患者	<ul style="list-style-type: none"> 希少疾患のため少ない 自家細胞は完全個別化医療 	<ul style="list-style-type: none"> 生活習慣病を含め比較的多い

まとめ

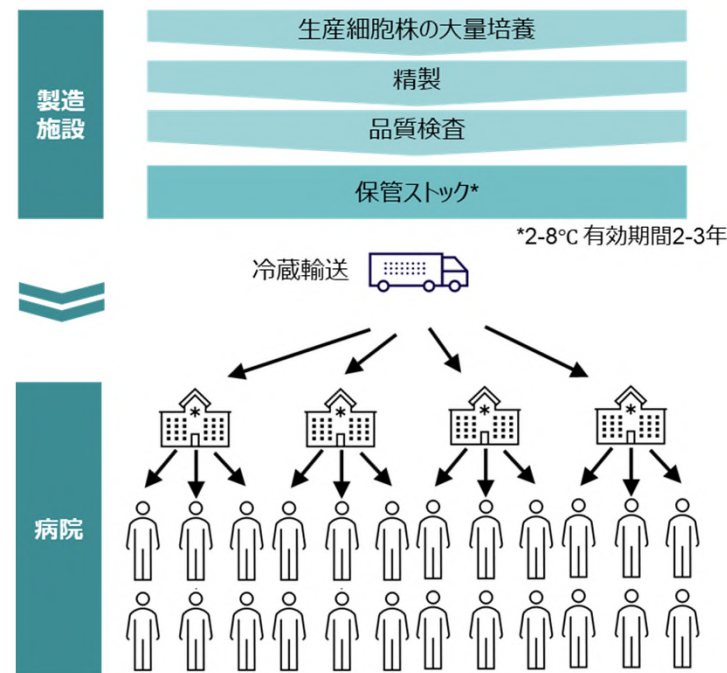
複雑な製造や個別化製造を踏まえた対応として、再生医療等製品の市場拡大
再算定の対象からの除外について、継続したご検討をお願い致します。

Appendix

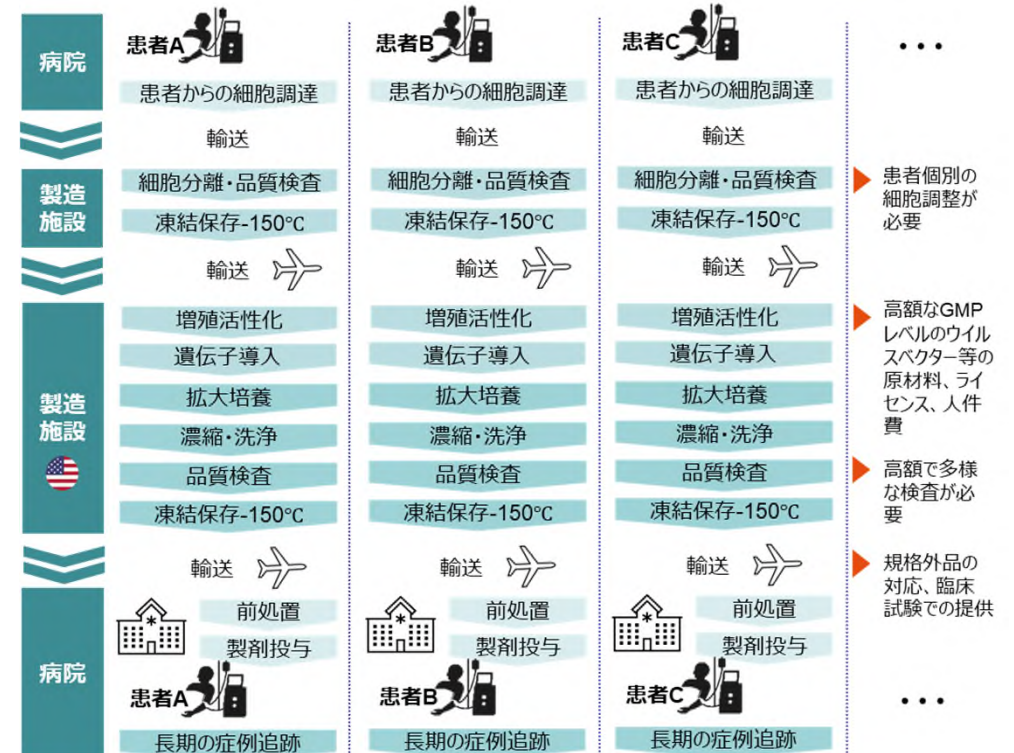
バイオ医薬品とex vivo遺伝子治療の製造～投与プロセスの違い

- ex vivo遺伝子治療については、1製品毎に製造、品質検査、輸送を行う。
- 市場規模（販売数量）が拡大してもオーダーメイドを繰り返すのみであり、製造コストの低減は極めて限定的である。
- 厳しい品質検査を経て最終製品化されるが、企業に由来しない製造失敗や投与未達のケースも存在する。

バイオ医薬品（複数患者用に大量製造）



ex vivo遺伝子治療（患者ごとに個別化製造）



再生医療等製品の多くは希少疾病に指定されている

- 2020年代に入り16品目が承認されているが、内15品目は希少疾病指定

承認年月日	承認品目	条件及び期限付承認	希少疾病指定
2020/3/19	ゾルゲンスマ点滴静注		○
2020/3/19	ネピック		○
2021/1/22	イエスカクタ点滴静注		○
2021/3/22	ブレヤンジ静注		○
2021/6/11	オキュラル		○
2021/6/11	デリタクト注	○	○
2021/9/27	アロフィセル注		○
2022/1/20	サクラシー		○
2022/1/20	アベクマ点滴静注		○
2022/9/26	カービクティ点滴静注		○
2023/3/17	ジャスミン		
2023/3/17	ビズノバ		○
2023/6/26	ルクスターナ注		○
2024/7/31	アクーゴ脳内移植用注	○	○
2025/5/13	エレビジス点滴静注	○	○
2025/7/24	バイジュベックゲル		○