

新再生医療等製品一覧表(令和8年5月20日収載予定)

中医協 総 - 5  
8 . 5 . 1 3

No.	銘柄名	規格単位	会社名	成分名	承認区分	算定薬価	算定方式	補正加算等	薬効分類	ページ
1	アクーゴ脳内移植用注	1回分	サンバイオ株式会社	バンデフィテムセル	新再生医療等製品	72,716,528円	原価計算方式	市場性加算(I)A=10% 先駆加算A=10% 加算係数 1.0 革新的新薬薬価維持制度	再生 外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善	2
2	アムシェプリ	18瓶1組	住友ファーマ株式会社	ラグネプロセル	新再生医療等製品	55,306,737円	原価計算方式	市場性加算(I)A=10% 先駆加算A=10% 加算係数 1.0 革新的新薬薬価維持制度	再生 レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病患者の運動症状の改善	6
3	ゾルゲンスマ髄注	1患者当たり	ノバルティス ファーマ株式会社	オナセムノゲン アペパルボベク	新用法・使用方法 再生医療等製品	167,077,222円	別銘柄として算定しない	革新的新薬薬価維持制度 費用対効果評価(H5)	再生 脊髄性筋萎縮症 ただし、抗AAV9抗体が陰性の患者に限る	11

	品目数	成分数
内用薬	0	0
注射薬	3	3
外用薬	0	0
計	3	3

## 再生医療等製品の保険適用について

類 別	ヒト細胞加工製品（ヒト体性細胞加工製品）		
成 分 名	バンデフィテムセル		
収 載 希 望 者	サンバイオ（株）		
販 売 名 （規格単位）	アクーゴ脳内移植用注（1回分）		
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善		
主 な 用 法 ・ 用 量 又 は 使 用 方 法	<p>通常、成人にはヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞として、生細胞<math>5 \times 10^6</math>個（<math>300 \mu\text{L}</math>）の細胞調製液を、専用投与機器セットを用いた定位脳手術により、損傷した組織の周辺部に移植する。頭蓋骨の小孔1箇所を通り損傷周辺部に至る3つの移植経路から、1移植経路あたり細胞懸濁液<math>100 \mu\text{L}</math>を最深部から5～6mm間隔で5箇所に、1箇所あたり<math>20 \mu\text{L}</math>移植する。注入速度は約<math>10 \mu\text{L}/\text{min}</math>とする。移植に際しては、以下を行うこと。</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>手術開始前に脳神経外科用侵襲式頭部固定具に専用投与機器セットのガイド&amp;ストップ、スタイレットを備えたインサーターを取り付ける。</li> <li>脳内移植用細胞剤を融解し、専用調製液を用いて洗浄した後、移植濃度<math>1.67 \times 10^6</math>個/<math>100 \mu\text{L}</math>になるように専用調製液で調製し、細胞懸濁液とする。専用投与機器セットの投与カニューラを固定したマイクロシリンジを専用調製液により清浄化した後、細胞懸濁液を充填する。</li> </ol>		
算 計 算	算 定 方 式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製 品 総 原 価	50,363,585円
		営 業 利 益	4,260,694円 <small>（流通経費を除く価格の7.8%）</small>
		流 通 経 費	464,000円 <small>（消費税を除く価格の0.84%（収載希望者から申請のあった実費に基づく額））</small>
		消 費 税	5,508,828円
定	補 正 加 算	市場性加算（I）（ $A=10\%$ ） 先駆加算（ $A=10\%$ ） 加算係数 1.0 <div style="display: flex; justify-content: space-between; margin-top: 10px;"> <span>（加算前）</span> <span>（加算後）</span> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-between; margin-top: 5px;"> <span>1回分</span> <span>60,597,106円</span> <span>→</span> <span>72,716,528円</span> </div>	
	外 国 平 均 価 格 調 整	なし	
算 定 薬 価	1回分 72,716,528円		
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
なし		予測年度	予測本剤投与患者数
最初に承認された国（年月）：日本		（ピーク時）	予測販売金額
		10年度	39人
			28億円
製 造 販 売 承 認 日	令和6年7月31日 ※条件及び期限付き承認	薬価基準収載予定日	令和8年5月20日

※生産体制の整備及び条件期限付き再生医療等製品の算定方法について検討がなされていたため

薬価算定組織における検討結果のまとめ

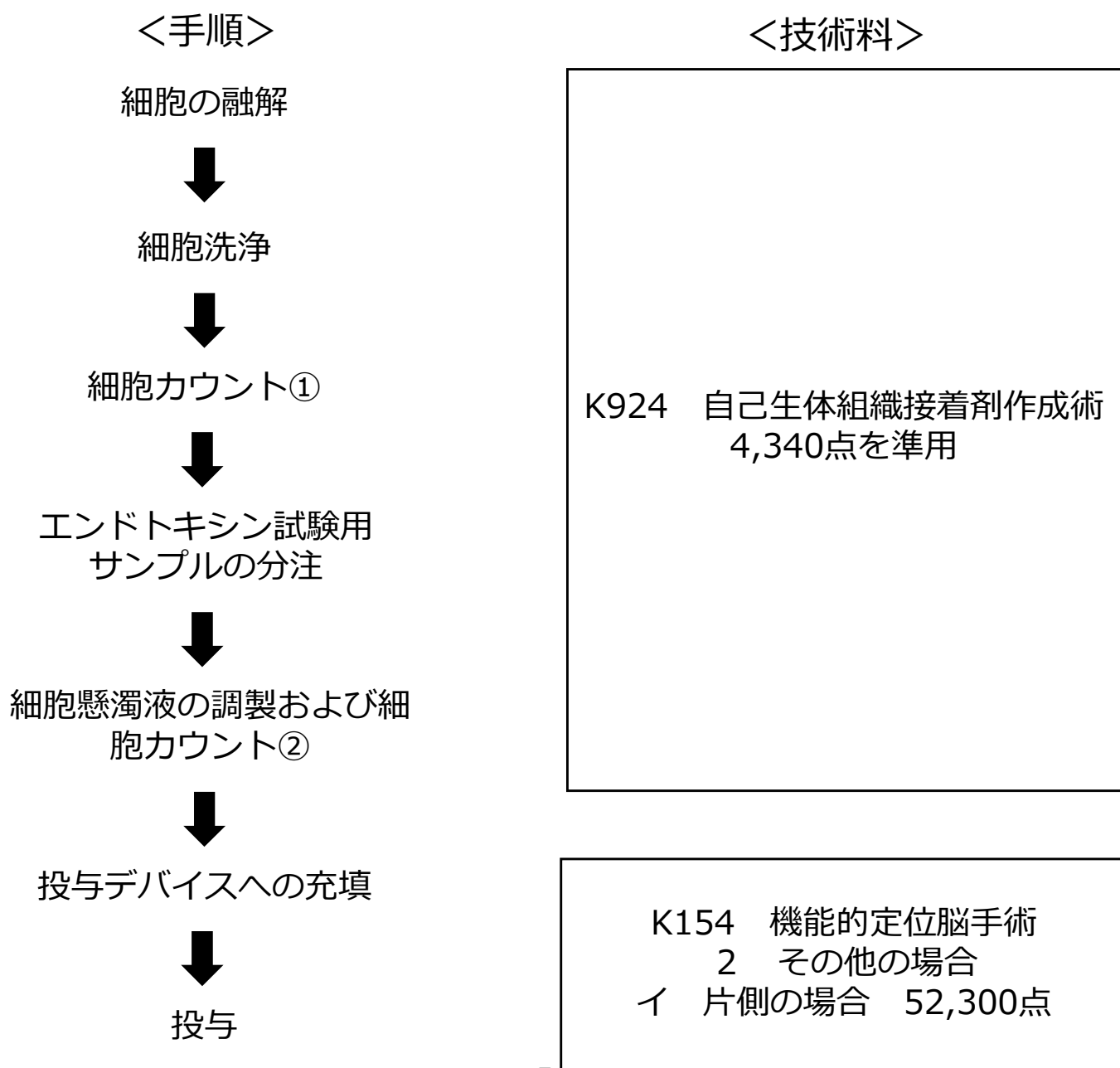
算定方式	原価計算方式	第一回算定組織	令和8年4月20日
原価計算方式を採用する妥当性		新 薬	類似薬がない根拠
	成分名	バンデフィテムセル	効能又は効果、薬理作用、組成、投与形態のすべてにおいて、類似する既収載品はない。
	イ. 効能・効果	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善	
	ロ. 薬理作用	神経細胞の修復作用	
	ハ. 組成及び化学構造	ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞（組織採取国：米国）に、Notch-1タンパク質の細胞内ドメインをコードする遺伝子を含むプラスミドを導入し、凍結保存した脳内移植用細胞剤	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 1 移植経路あたり細胞懸濁液100μLを最深部から5～6mm間隔で5箇所、1箇所あたり20μL移植する。	
補正加算	画期性加算（70～120%）	該当しない	
	有用性加算（Ⅰ）（35～60%）	該当しない	
	有用性加算（Ⅱ）（5～30%）	該当しない	
	市場性加算（Ⅰ）（10～20%）	該当する（A＝10%） ----- 本剤は希少疾病用再生医療等製品に指定されていることから、加算の要件を満たす。	
	市場性加算（Ⅱ）（5%）	該当しない	
	特定用途加算（5～20%）	該当しない	
	小児加算（5～20%）	該当しない	
	先駆加算（10～20%）	該当する（A＝10%） ----- 本剤は先駆け審査指定制度の対象品目として指定を受けていることから、加算の要件を満たす。国際共同第Ⅱ相試験の結果について、薬事審査では限定的な評価とされていることから、加算率は10%が妥当と判断した。	
	迅速導入加算（5～10%）	該当しない	
革新的新薬薬価維持制度への該当性	該当する（主な理由：希少疾病用再生医療等製品として指定）		
費用対効果評価への該当性	該当しない ※改めて承認を受けた際にその該当性を判断する		
当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点			
上記不服意見に対する見解	第二回算定組織	令和 年 月 日	

## 製品概要

販売名	アクーゴ脳内移植用注																														
使用目的	<p>本品は、主構成体として健康成人から骨髄液を採取し、培養により分離・増殖させた間葉系幹細胞にヒト Notch-1 の細胞内ドメインをコードしたプラスミドベクターを導入したヒト（同種）由来の脳内移植用細胞懸濁液（バンデフィテムセル）、副構成体として移植する細胞懸濁液の調製に用いる専用調製液及び専用投与機器セット（①マイクロシリンジ、②投与カニューラ、③インサーター、④スタイレット及び⑤ガイド&amp;ストップ）により構成される、コンビネーション製品である。本品から分泌されるサイトカインによる内因性神経幹細胞の増殖・分化、血管新生、免疫調節の促進等を介した神経細胞の修復作用が期待される。</p>																														
主な使用方法	<p><b>【用法及び用量又は使用方法】</b>          通常、成人にはヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞として、生細胞 <math>5 \times 10^6</math> 個（300<math>\mu</math>L）の細胞調製液を、専用投与機器セットを用いた定位脳手術により、損傷した組織の周辺部に移植する。頭蓋骨の小孔1箇所を通り損傷周辺部に至る3つの移植経路から、1移植経路あたり細胞懸濁液 100<math>\mu</math>L を最深部から 5~6mm 間隔で5箇所に、1箇所あたり 20<math>\mu</math>L 移植する。注入速度は約 10<math>\mu</math>L/min とする。移植に際しては、以下を行うこと。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・手術開始前に脳神経外科用侵襲式頭部固定具に専用投与機器セットのガイド&amp;ストップ、スタイレットを備えたインサーターを取り付ける。</li> <li>・脳内移植用細胞剤を融解し、専用調製液を用いて洗浄した後、移植濃度 <math>1.67 \times 10^6</math> 個/100<math>\mu</math>L になるように専用調製液で調製し、細胞懸濁液とする。専用投与機器セットの投与カニューラを固定したマイクロシリンジを専用調製液により清浄化した後、細胞懸濁液を充填する。</li> </ul>																														
主な有用性	<p>・有効性の主要評価項目とされた本品移植後又は偽手術実施後 24 週目における FMMS スコアのベースラインからの変化量の結果は以下表のとおりであった。主たる比較は各用量群を併合した SB623 群（バンデフィテムセル群）と偽手術群との比較とされ、主要評価項目について、統計学的に有意な差が認められた。</p> <p style="text-align: center;"><b>表 22 主要評価項目の結果 (mITT 集団)</b></p> <table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse; text-align: center;"> <thead> <tr> <th></th> <th>2.5<math>\times 10^6</math> 個群 (n=15)</th> <th>5.0<math>\times 10^6</math> 個群 (n=15)</th> <th>10.0<math>\times 10^6</math> 個群 (n=16)</th> <th>SB623 群 (n=46)</th> <th>偽手術群 (n=15)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>ベースライン<sup>*1,*2</sup></td> <td>54.5<math>\pm</math>18.1</td> <td>51.3<math>\pm</math>22.0</td> <td>50.9<math>\pm</math>18.7</td> <td>52.2<math>\pm</math>19.3</td> <td>52.3<math>\pm</math>15.1</td> </tr> <tr> <td>24 週目<sup>*1,*2</sup>における FMMS スコアのベースラインからの変化量</td> <td>6.0<math>\pm</math>10.1</td> <td>11.0<math>\pm</math>8.4</td> <td>8.1<math>\pm</math>12.8</td> <td>8.3<math>\pm</math>10.6</td> <td>2.3<math>\pm</math>4.7</td> </tr> <tr> <td>偽手術群との群間差 (95%CI)<sup>*1,*2</sup></td> <td>3.7 (-2.4, 9.7)</td> <td>8.5 (3.4, 13.7)</td> <td>5.7 (-1.3, 12.7)</td> <td>6.0 (0.3, 11.8)</td> <td style="border: none;"></td> </tr> <tr> <td>p 値<sup>*1,*2,*3</sup></td> <td colspan="4"></td> <td>0.0401</td> </tr> </tbody> </table> <p style="font-size: small;">平均値<math>\pm</math>標準偏差</p> <p>※FMMSスコア (Fugl-Meyer Motor Scale スコア)          : 運動機能に関し、上肢では反射活動、屈筋の共同運動、伸筋の共同運動、複合的な共同運動、共同運動を伴わない運動、正常反射活動、手首、手、協調性及び速度の計 33 項目について、0 (機能しない) ~ 2 (完全に機能する) の3段階 (反射のみ0か2の2段階評価) で評価し、66 点満点となる指標。下肢では反射活動、屈筋の共同運動、伸筋の共同運動、複合的な共同運動、共同運動を伴わない運動、正常反射活動、協調性及び速度の計 17 項目について、上肢と同様に3段階で評価し、34 点満点となる指標。</p>		2.5 $\times 10^6$ 個群 (n=15)	5.0 $\times 10^6$ 個群 (n=15)	10.0 $\times 10^6$ 個群 (n=16)	SB623 群 (n=46)	偽手術群 (n=15)	ベースライン <sup>*1,*2</sup>	54.5 $\pm$ 18.1	51.3 $\pm$ 22.0	50.9 $\pm$ 18.7	52.2 $\pm$ 19.3	52.3 $\pm$ 15.1	24 週目 <sup>*1,*2</sup> における FMMS スコアのベースラインからの変化量	6.0 $\pm$ 10.1	11.0 $\pm$ 8.4	8.1 $\pm$ 12.8	8.3 $\pm$ 10.6	2.3 $\pm$ 4.7	偽手術群との群間差 (95%CI) <sup>*1,*2</sup>	3.7 (-2.4, 9.7)	8.5 (3.4, 13.7)	5.7 (-1.3, 12.7)	6.0 (0.3, 11.8)		p 値 <sup>*1,*2,*3</sup>					0.0401
	2.5 $\times 10^6$ 個群 (n=15)	5.0 $\times 10^6$ 個群 (n=15)	10.0 $\times 10^6$ 個群 (n=16)	SB623 群 (n=46)	偽手術群 (n=15)																										
ベースライン <sup>*1,*2</sup>	54.5 $\pm$ 18.1	51.3 $\pm$ 22.0	50.9 $\pm$ 18.7	52.2 $\pm$ 19.3	52.3 $\pm$ 15.1																										
24 週目 <sup>*1,*2</sup> における FMMS スコアのベースラインからの変化量	6.0 $\pm$ 10.1	11.0 $\pm$ 8.4	8.1 $\pm$ 12.8	8.3 $\pm$ 10.6	2.3 $\pm$ 4.7																										
偽手術群との群間差 (95%CI) <sup>*1,*2</sup>	3.7 (-2.4, 9.7)	8.5 (3.4, 13.7)	5.7 (-1.3, 12.7)	6.0 (0.3, 11.8)																											
p 値 <sup>*1,*2,*3</sup>					0.0401																										

# アクーゴの投与等に係る技術料について（案）

- アクーゴ（以下「本品」という。）は、投与施設において、投与前に、細胞調製担当者（製造販売業者が企画する講習を修了した医療スタッフ）による細胞調製が必要である。また、本品は定位脳手術により投与される。
- 本品の投与前手技については、投与前に製剤を融解及び遠心分離等により調製する手技の類似性に鑑み、「K924 自己生体組織接着剤作成術 4,340点」の所定点数を準用して算定することとしてはどうか。
- 本品の投与手技については、本品を定位脳手術により1箇所<sup>イ</sup>の損傷部位に投与することから、「K154 機能的定位脳手術 2 その他の場合 イ 片側の場合 52,300点」を算定することとしてはどうか。



## 再生医療等製品の保険適用について

類 別	ヒト細胞加工製品（ヒト人工多能性幹細胞加工製品）		
成 分 名	ラグネプロセル		
収 載 希 望 者	住友ファーマ（株）		
販 売 名 （規格単位）	アムシェプリ（18瓶1組）		
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病患者の運動症状の改善		
主 な 用 法 ・ 用 量 又 は 使 用 方 法	通常、成人には、非自己iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞として片側あたり $5.4 \times 10^6$ 個を目標として、定位脳手術により、両側の被殻に移植する。頭蓋骨の小孔1箇所を通る3つの投与経路から、1投与経路あたり約 $1.8 \times 10^6$ 個を1～2mm間隔で6～9箇所に分けて移植する。注入速度は約 $0.1 \mu\text{L}/\text{秒}$ とする。		
算 定	算 定 方 式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製 品 総 原 価	42,820,163円
		営 業 利 益	3,622,530円 <small>（流通経費を除く価格の7.8%）</small>
		流 通 経 費	250,394円 <small>（消費税を除く価格の0.54%（収載希望者から申請のあった実費に基づく額））</small>
		消 費 税	4,669,309円
	補 正 加 算	市場性加算（I）（A=10%）、先駆加算（A=10%） 加算係数 1.0  <div style="display: flex; justify-content: space-between; align-items: center;"> <span>(加算前)</span> <span>→</span> <span>(加算後)</span> </div> 18瓶1組    51,362,396円    →    55,306,737円	
	外 国 平 均 価 格 調 整	なし	
算 定 薬 価	18瓶1組    55,306,737円		
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
なし		予測年度	予測本剤投与患者数
		（ピーク時）	予測販売金額
		10年度	133人    74億円
最初に承認された国（年月）：日本			
製 造 販 売 承 認 日	令和8年3月6日 ※条件及び期限付き承認	薬価基準収載予定日	令和8年5月20日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式	原価計算方式	第一回算定組織	令和8年4月20日
原価計算方式を採用する妥当性		新 薬	類似薬がない根拠
	成分名	ラグネプロセル	本品は、新規作用機序のiPS細胞由来の再生医療等製品であり、機能的定位脳手術により移植して投与する。よって、薬理作用、組成、投与形態のすべてにおいて、類似する既収載品はない。
	イ. 効能・効果	レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病患者の運動症状の改善	
	ロ. 薬理作用	ドパミン神経前駆細胞の移植後に分化・成熟したドパミン神経細胞によるドパミン増加作用	
	ハ. 組成及び化学構造	非自己ヒト人工多能性幹細胞(iPS細胞)由来DA神経前駆細胞を構成細胞(有効成分)とする製剤化された細胞加工製品	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 1投与経路あたり約 $1.8 \times 10^6$ 個を1~2mm間隔で6~9箇所に分けて移植	
補正加算	画期性加算(70~120%)	該当しない	
	有用性加算(I)(35~60%)	該当しない	
	有用性加算(II)(5~30%)	該当しない	
	市場性加算(I)(10~20%)	該当する(A=10%) ----- 本剤は希少疾病用再生医療等製品に指定されていることから、加算の要件を満たす。	
	市場性加算(II)(5%)	該当しない	
	特定用途加算(5~20%)	該当しない	
	小児加算(5~20%)	該当しない	
	先駆加算(10~20%)	該当する(A=10%) ----- 本品は、世界に先駆けて日本で承認されたものであることから、加算の要件を満たす。一方で、本品は条件及び期限付き承認であり、有効性を示すデータは限られていることから、限定的な評価とした。	
	迅速導入加算(5~10%)	該当しない	
革新的新薬薬価維持制度への該当性	該当する(主な理由:希少疾病用再生医療等製品として指定)		
費用対効果評価への該当性	該当しない ※改めて承認を受けた際にその該当性を判断する		
当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点			
上記不服意見に対する見解	第二回算定組織	令和 年 月 日	

## 製品概要

販売名	アムシェプリ
使用目的	<p>本品は、健康成人の末梢血単核球から作製した iPS 細胞から分化誘導して製造したドパミン神経前駆細胞の細胞塊を含有する細胞加工製品である。本品をパーキンソン病患者の線条体の被殻に移植後、本品がドパミン神経細胞に分化・成熟することにより、ドパミン神経機能が回復し、ドパミン神経細胞が産生・分泌する内因性ドパミンの増加等により、運動症状が改善することが期待される。</p>
主な使用方法	<p><b>【用法及び用量又は使用方法】</b></p> <p>1 本品の移植</p> <p>通常、成人には、非自己 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞として片側あたり <math>5.4 \times 10^6</math> 個を目標として、定位脳手術により、両側の被殻に移植する。頭蓋骨の小孔 1 箇所を通る 3 つの投与経路から、1 投与経路あたり約 <math>1.8 \times 10^6</math> 個を 1~2mm 間隔で 6~9 箇所に分けて移植する。注入速度は約 <math>0.1 \mu\text{L}/\text{秒}</math> とする。</p> <p>※本品は、1 容器 (1mL) あたり <math>1 \times 10^6</math> 個のドパミン神経前駆細胞に相当する個数の細胞を含有する。</p> <p>2 本品に対する免疫反応の抑制を目的とした本品移植前後のタクロリムス水和物の投与方法</p> <p>通常、初期にはタクロリムスとして 1 回 <math>0.03 \sim 0.15\text{mg}/\text{kg}</math> を 1 日 2 回、移植日の朝から経口投与する。以後、目標血中トラフ濃度を <math>5 \sim 10\text{ng}/\text{mL}</math> とし、血中トラフ濃度をモニタリングしながら投与量を調節する。拒絶反応が認められた場合は、目標血中トラフ濃度を <math>10 \sim 20\text{ng}/\text{mL}</math> とする。投与開始後 1 年を目安に、以後 12 週間かけて漸減し投与を中止するが、必要に応じて投与期間を延長する。</p>

(臨床試験成績)

・国内臨床試験では、7例に本品が移植され、安全性解析対象集団とされた。そのうち、両側同時に本品を移植された6例 (PD02, PD03, PD04, PD05, PD06, PD08) が有効性解析対象集団とされた。

※用法及び用量又は使用方法は、片側あたり本品  $2.4 \times 10^6$  個を両側被殻に本品が同時移植された (低用量群)。PD04 以降の患者 (PD04, PD05, PD06, PD08) には片側あたり本品  $4.2 \sim 5.4 \times 10^6$  個が移植された (高用量群)。

・オフ時の MDS-UPDRSPart III 合計スコア及び Bradykinesia subscale については、同じ4例 (PD02, PD03, PD04, PD08) で改善した。当該4例のうち3例 (PD02, PD03, PD08) でオフ時の H&Y 重症度も改善した (2段階改善: 1例、1段階改善: 2例)。(下表)

項目	時点	オフ時の MDS-UPDRS Part III 合計スコア						オフ時の H&Y 重症度						オフ時の Bradykinesia subscale					
		低用量群			高用量群			低用量群			高用量群			低用量群			高用量群		
		PD02	PD03	PD04	PD05	PD06	PD08	PD02	PD03	PD04	PD05	PD06	PD08	PD02	PD03	PD04	PD05	PD06	PD08
実測値	一次登録 <sup>2</sup>	34	59	73	66	58	36	4	5	5	5	3	3	11	23	26	18	23	13
	二次登録	34	55	71	59	52	34	4	5	5	5	3	3	14	20	22	17	21	11
	4週	36	34	32	75	47	24	4	4	2	5	2	2	12	13	10	25	18	9
	12週	18	49	19	73	36	26	4	4	2	5	2	2	7	20	4	26	13	9
	6カ月	18	64	21	65	43	25	2	4	2	5	2	2	4	26	6	20	17	9
	12カ月	25	38	21	67	49	23	4	4	2	5	2	2	7	11	8	24	20	9
	18カ月	25	45	31	68	48	24	2	4	2	5	2	2	9	15	12	24	20	9
	24カ月	23	50	39	64	55	17	2	4	5	5	2	2	9	16	15	23	22	7
変化量 <sup>1</sup>	一次登録	0	4	2	7	6	2	0	0	0	0	0	0	-3	3	4	1	2	2
	二次登録	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
	4週	2	-21	-39	16	-5	-10	0	-1	-3	0	-1	-1	-2	-7	-12	8	-3	-2
	12週	-16	-6	-52	14	-16	-8	0	-1	-3	0	-1	-1	-7	0	-18	9	-8	-2
	6カ月	-16	9	-50	6	-9	-9	-2	-1	-3	0	-1	-1	-10	6	-16	3	-4	-2
	12カ月	-9	-17	-50	8	-3	-11	0	-1	-3	0	-1	-1	-7	-9	-14	7	-1	-2
	18カ月	-9	-10	-40	9	-4	-10	-2	-1	-3	0	-1	-1	-5	-5	-10	7	-1	-2
	24カ月	-11	-5	-32	5	3	-17	-2	-1	0	0	-1	-1	-5	-4	-7	6	1	-4

主な有用性

・オン時の MDS-UPDRSPart III 合計スコアについては、5例 (PD02, PD03, PD04, PD05, PD08) で改善した。

・運動症状に関する評価項目はいずれも主観的な評価指標であり、非盲検非対照試験では、評価者及び患者の治療効果への期待感が評価に影響する可能性があり、本試験に参加し定位脳手術を受けたこと自体によるプラセボ効果が一定程度存在する可能性は否定できない。

・一方、本臨床試験の6例中3例 (PD02, PD04, PD08) では、オフ時の MDS-UPDRSPart III 合計スコアについて、文献で報告されている移植後1年時点の最大のプラセボ効果 (-10.1) を上回る改善が移植後2年時点で認められたことは、本品の有効性を示唆する結果であると考えられる。

(有効性評価指標)

・MDS-UPDRS Part III :

運動症状について18項目33問を各0(正常)~4(重度)(132点満点)で医師が評価。

・Bradykinesia subscale :

MDS-UPDRS Part III のスコアのうちジスキネジアに関する9項目を合計。(右表\*の項目)

・H&Y (Hoehn & Yahr) 重症度 :

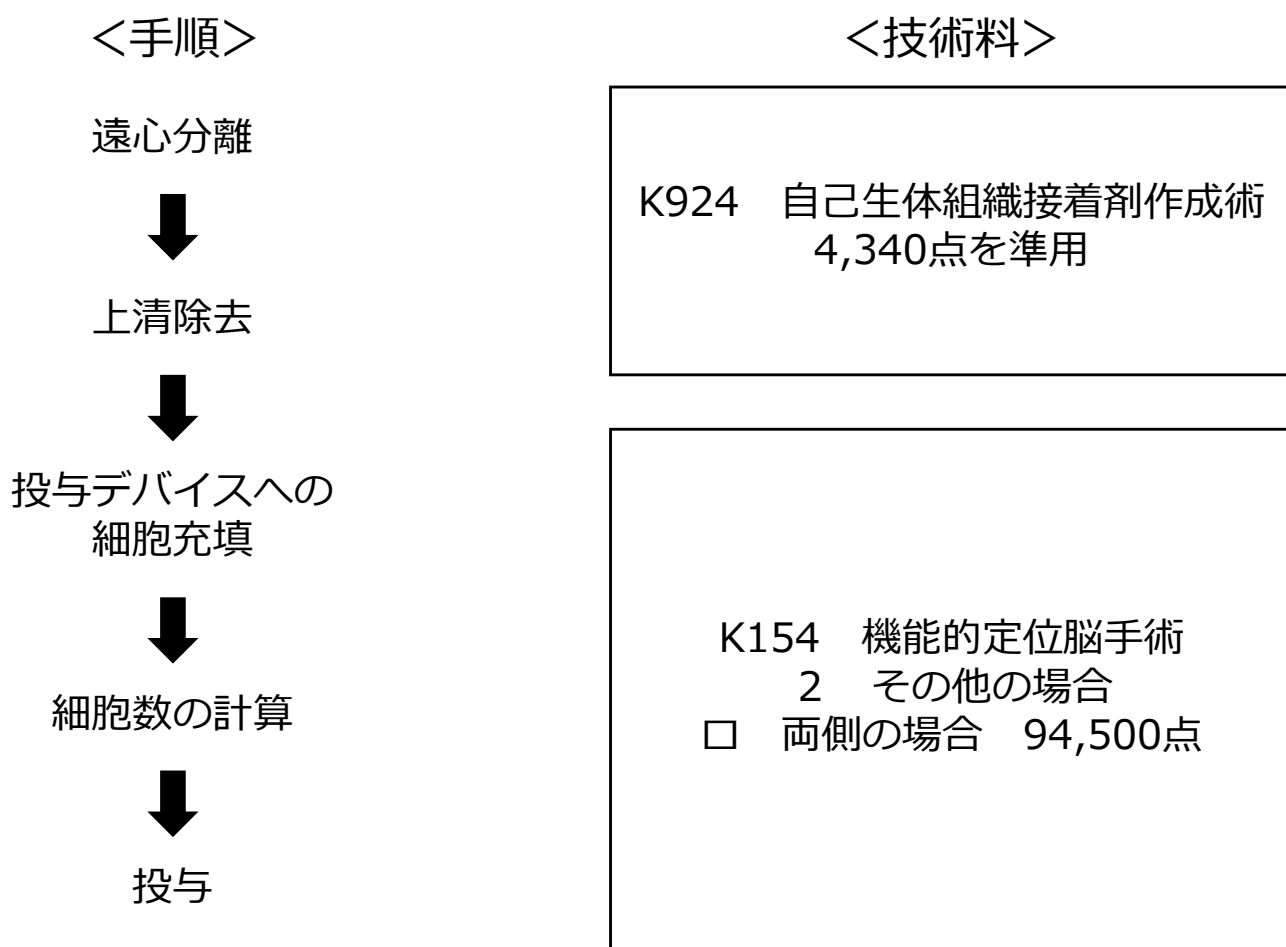
身体的症状から6段階で進行度を評価。

MDS-UPDRS Part III スコア (\* : Bradykinesia subscale)

1. 言語\*
2. 顔の表情\*
3. 固縮 (頸部、右上肢、左上肢、右下肢、左下肢)
4. 指タッピング (右、左) \*
5. 手の運動 (右、左) \*
6. 手の回内回外運動 (右、左)
7. つま先のタッピング (右、左)
8. 下肢の敏捷性 (右、左) \*
9. 椅子からの立ち上がり
10. 歩行
11. 歩行のすくみ
12. 姿勢の安定性
13. 姿勢
14. 運動の全般的な自発性 (身体の動作緩慢) \*
15. 手の静止時振戦 (右、左)
16. 手の運動時振戦 (右、左)
17. 静止時振戦の振幅 (右上肢、左上肢、右下肢、左下肢、口唇/下顎)
18. 静止時振戦の持続性

# アムシェプリの投与等に係る技術料について（案）

- アムシェプリ（以下「本品」という。）は、投与施設において、投与前の細胞調製が必要である。また、本品は定位脳手術により投与される。
- 本品の投与前手技については、投与前に製剤を遠心分離等により調製する手技の類似性に鑑み、「K924 自己生体組織接着剤作成術 4,340点」の所定点数を準用して算定することとしてはどうか。
- 本品の投与手技については、本品を定位脳手術により両側の被殻に投与することから、「K154 機能的定位脳手術 2 その他の場合 □ 両側の場合 94,500点」を算定することとしてはどうか。



## 再生医療等製品の保険適用について

類 別	遺伝子治療用製品（ウイルスベクター製品）			
成 分 名	オナセムノゲン アベパルボベク			
収 載 希 望 者	ノバルティス ファーマ（株）			
販 売 名 （規格単位）	ゾルゲンスマ髄注（1患者当たり）			
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	脊髄性筋萎縮症 ただし、抗AAV9抗体が陰性の患者に限る ※2歳以上の患者に限る			
主な用法・用量 又は使用方法	通常、1. $2 \times 10^{14}$ ベクターゲノム（vg）を約1～2分かけて髄腔内に単回投与する。オナセムノゲン アベパルボベクの投与歴（投与経路は問わない）がある患者には本品を投与しないこと。			
算 定	算 定 方 式	別銘柄として算定しない		
	比 較 薬	成分名：オナセムノゲン アベパルボベク 会社名：ノバルティス ファーマ（株）		
		販売名（規格単位） ゾルゲンスマ点滴静注 <sup>注）</sup> （1患者当たり）	薬価（1日薬価） 167,077,222円 （167,077,222円）	
			注）革新的新薬薬価維持制度の対象品目	
	補 正 加 算	なし		
外 国 平 均 価 格 調 整	なし			
算 定 薬 価	1患者当たり 167,077,222円 ※本品は1患者に対して単回の投与で治療が完結するものであるため、1患者当たりとして薬価を算定した。			
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測		
なし  (参考) 1患者当たり 米国 3,103,955.75ドル 465,593,363円 (AWP) 米国 2,586,629.70ドル 387,994,455円 (WAC)  最初に承認された国（年月）： 米国（2025年11月）		予測年度	予測本剤投与患者数	予測販売金額
		(ピーク時) 2年度	26人	43億円
製 造 販 売 承 認 日	令和8年4月3日	薬価基準収載予定日	令和8年5月20日	

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		別銘柄として算定しない	第一回算定組織	令和8年4月20日
最類似薬選定の妥当性		新 薬	最類似薬	
	成分名	オナセムノゲン アベパルボベク		オナセムノゲン アベパルボベク
	イ. 効能・効果	脊髄性筋萎縮症 <u>ただし、抗AAV9抗体が陰性の患者に限る</u>		<u>左に同じ</u>
	ロ. 薬理作用	<u>SMN遺伝子補充作用</u>		<u>左に同じ</u>
	ハ. 組成及び化学構造	<u>アデノ随伴ウイルス9型のカプシドを有するヒトSMNタンパク質を発現する非増殖性遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス</u>		<u>左に同じ</u>
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 髄腔内投与		<u>左に同じ</u> <u>左に同じ</u> 静脈内投与
補正加算	画期性加算 (70~120%)	該当しない		
	有用性加算 (I) (35~60%)	該当しない		
	有用性加算 (II) (5~30%)	該当しない		
	市場性加算 (I) (10~20%)	該当しない		
	市場性加算 (II) (5%)	該当しない		
	特定用途加算 (5~20%)	該当しない		
	小児加算 (5~20%)	該当しない		
	先駆加算 (10~20%)	該当しない		
迅速導入加算 (5~10%)	該当しない			
革新的新薬薬価維持制度への該当性	該当する (主な理由: 希少疾病用再生医療等製品として指定)			
費用対効果評価への該当性	該当する (H5)			
当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点				
上記不服意見に対する見解	第二回算定組織	令和 年 月 日		

## 製品概要

販売名	ゾルゲンスマ髄注
使用目的	本品は、ゾルゲンスマ点滴静注と同一のオナセムノゲン アベパルボベクを主成分とする髄腔内投与製剤として開発された。髄腔内に投与された本品が患者の運動ニューロンに感染することにより、本品に搭載された遺伝子発現構成体が細胞の核内にエピソームとして留まり、ヒト <i>SMN</i> 遺伝子は長期間安定して発現する。SMA の原因である <i>SMN1</i> 遺伝子の機能欠損を補い、発現した SMN タンパク質により、神経及び筋肉の機能を高めることで、SMA 患者の生命予後を改善することが期待される。
主な使用方法	【用法及び用量又は使用方法】 通常、 $1.2 \times 10^{14}$ ベクターゲノム (vg) を約 1~2 分かけて髄腔内に単回投与する。オナセムノゲン アベパルボベクの投与歴（投与経路は問わない）がある患者には本品を投与しないこと。

・本品では、脊髄性筋萎縮症（SMA）患者※126例を対象としたシャム処置対照無作為化二重盲検並行群間比較試験（海外第Ⅲ相試験：B12301 試験）及びヌシネルセン又はリスジプラムによる治療歴を有する SMA 患者※27 例を対象とした非盲検非対照試験（国際共同第Ⅲ相試験：B12302 試験）が実施された。

※支えなしで座位は可能だが、補助なしで歩行は不可能、かつ、抗 AAV9 抗体を有しない患者が対象とされた。

・B12301 試験において、主要評価項目である投与後 52 週時点の HFMSE スコアのベースラインからの変化量について、本品群のシャム群に対する優越性が示された。

HFMSE スコアのベースラインからの変化量（B12301 試験）

	本品群（75 例）	シャム群（51 例）
投与 4 週後	1.23±2.956（75 例）	-0.28±2.080（50 例）
投与 8 週後	1.22±3.388（72 例）	0.20±2.462（49 例）
投与 12 週後	1.10±2.947（72 例）	0.18±3.080（49 例）
投与 20 週後	1.31±3.500（74 例）	0.83±3.376（51 例）
投与 28 週後	1.47±3.416（72 例）	0.81±4.054（48 例）
投与 36 週後	2.18±3.374（73 例）	0.53±3.552（50 例）
投与 44 週後	2.35±3.849（71 例）	0.95±3.747（51 例）
評価期 1 終了時*1	2.38±3.828（74 例）*2	0.56±3.871（50 例）

平均値±標準偏差

\*1：本品投与後 48 週と 52 週の平均値が用いられた。なお、いずれかの値が得られなかった場合には、得られた値が採用された。

\*2：1 例は評価期 1 を完了しておらず、52 週の値が得られていないが、48 週時点の値が得られていたため、解析に採用した。

主な有用性

・B12302 試験において、他の SMA 治療薬による治療歴を有する患者において、投与後 52 週時点の HFMSE スコアは一定程度維持されていた。

HFMSE スコアのベースラインからの変化量（B12302 試験、日本人患者集団）

	実測値	変化量	実測値	変化量	実測値	変化量	実測値	変化量	ベースラインからの変化量*
HFMSEスコア									
ベースライン	16.0	—	27.0	—	21.0	—	9.0	—	—
投与4週後	18.0	2.0	30.0	3.0	25.0	4.0	10.0	1.0	2.50±1.291
投与8週後	20.0	4.0	30.0	3.0	NA	NA	12.0	3.0	3.33±0.577
投与12週後	19.0	3.0	30.0	3.0	NA	NA	13.0	4.0	3.33±0.577
投与22週後	19.0	3.0	32.0	5.0	23.0	2.0	9.0	0.0	2.50±2.082
投与32週後	NA	NA	29.0	2.0	21.0	0.0	7.0	-2.0	0.00±2.000
投与42週後	19.0	3.0	31.0	4.0	21.0	0.0	11.0	2.0	2.25±1.708
投与52週後	19.0	3.0	NA	NA	23.0	2.0	8.0	-1.0	1.33±2.082

NA：欠測

\*平均値±標準偏差

※HFMSE スコア：運動機能を測る 33 項目を 0（不可能）～2 点（完全に可能）の 3 段階で評価し、合計スコア 0～66 点を算出する。

※シャム群：介入による効果がなく、試験群と同じ治療法を施す群