

2025年9月22日

第2回創薬力向上のための官民協議会ワーキンググループ

# 創薬力向上に向けた今後の方策について

## ～国民の皆さまに最新の医療を迅速に届けるために～

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 畠 賢一郎

# 再生医療等製品は既存医薬品とは大きく異なる

- 再生医療等製品は、従来の医薬品と「ビジネスモデル」や「適応すべきルール」を変える必要がある

## 既存医薬品とは大きく異なる再生医療等製品の特徴・特長

治療  
概念を  
変える  
薬効

長期  
持続

多様性

短い  
シエルフ  
ライフ

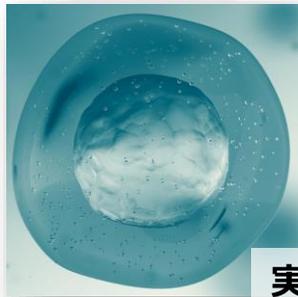
医師の  
技術が  
介在

複雑な  
サプライ  
チェーン

コスト  
構造

## 大きさ

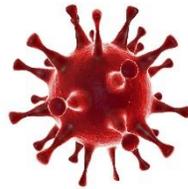
細胞医薬



直径 約20 $\mu$ m

実際は  
この500倍

遺伝子治療



直径 約22nm

低分子化合物



直径 <1nm

抗体



直径 約数nm

## 品質管理の難易度（イメージ）

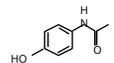
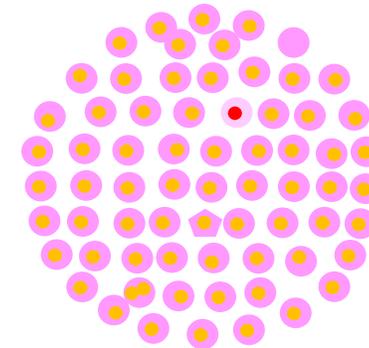
再生医療等製品

細胞全体の均質性管理

VS

低分子医薬品

1成分の管理



# 再生医療等製品の特徴（既存医薬品との違い）

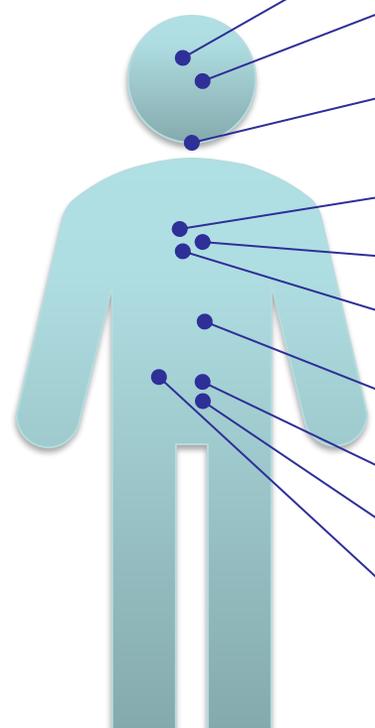
	再生医療等製品	低分子医薬品・ バイオ医薬品	
研究開発	規制	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本の規制（カルタヘナ等）が障壁</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>ICHにより国際的に調和</li> </ul>
	特許	<ul style="list-style-type: none"> <li>多くの特許が関連（ライセンス料増）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>物質特許で保護</li> </ul>
	人材	<ul style="list-style-type: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

# 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9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



# 今後上市が想定されるiPS細胞由来の再生医療等製品



開発者等	移植細胞	対象疾患	開発状況
住友ファーマ/京都大学	ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病	承認申請
住友ファーマ/ヘリオス	網膜色素上皮細胞	網膜色素上皮裂孔	Phase 1/2
ブライトパス・バイオ/ 千葉大学・理化学研究所	NKT細胞	再発・進行頭頸部がん	Phase 1
ハートシード/ 慶応義塾大学	心筋細胞	虚血性心疾患に伴う 重症心不全	Phase 1/2
クオリプス/大阪大学	心筋細胞	虚血性心筋症による 重症心不全	承認申請
iHeart Japan	心血管系細胞多層体	拡張型心筋症	Phase 1/2
メガカリオン/京都大学 /CiRA-F	血小板	血小板減少症	Phase 1/2
順天堂大学	細胞障害性T細胞	HPV16型陽性子宮頸がん	Phase 1
国立がん研究センター/ 京都大学	NK細胞	卵巣がん	Phase 1
オリヅルセラピューティクス/ 京都大学	膵島細胞	重症I型糖尿病	Phase 1/1b

# 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



既存  
製品

投資  
回収

イノベー  
ション  
の評価

研究開発・  
製造

iPS細胞  
など将来  
の製品



海外から  
の製品



新規治療  
の提供

- 再生医療等製品のイノベーションを評価しうる新たな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

- 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

- 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

# 再生医療で描く日本の未来に向けた提言

## 再生医療に関わる人材育成

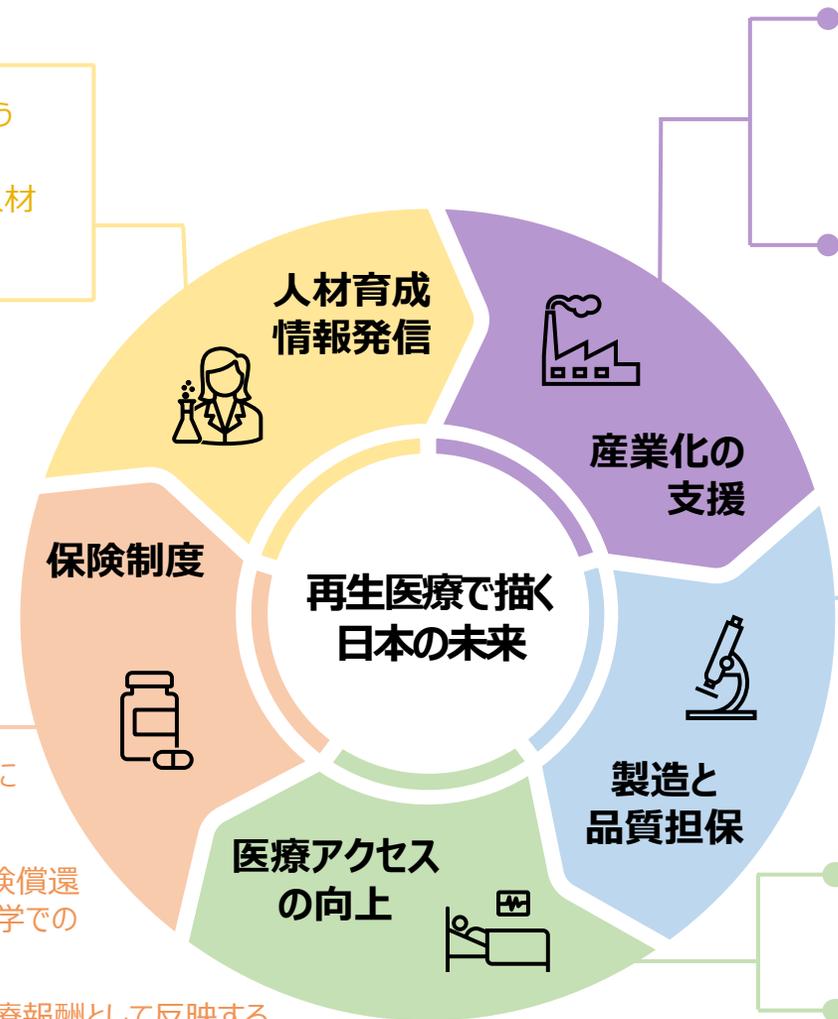
- 自動化・ロボット技術を含む医工連携等を担う学際的な再生医療人材を育成する
- 日本と海外、官民間、アカデミアと企業間の人材交流を活性化する

## 信頼性の高い情報発信

- アジア・海外に向けて日本の薬事制度や日本のシーズの魅力を産官学で発信する
- 分かりやすく信頼できる再生医療情報を官公庁・アカデミア・産業界から提供する

## 新たな医療保険制度

- 健全な医療保険財政を実現するための財源に関する政策について政産官学で議論する
- 再生医療等製品の特長・価値を踏まえた保険償還価格制度や価値評価方法について、政産官学での議論を継続する
- 再生医療を提供する医師の手技料等を 診療報酬として反映する
- 再生医療に関する公的医療保険の適応範囲を整理し、民間保険の活用や新たな保険外併用療養費制度を検討する



## アカデミアの充実と知財戦略

- 異分野連携や学際的な視点での共創を促進し、魅力的なアカデミア環境を整備する
- 製品価値向上につながる重要品質特性のを特定するアカデミア研究を支援する

## 投資環境の整備

- バイオベンチャーへの投資を充実し、製薬企業の持つ能力を活用しながら臨床開発や海外展開を推進する
- ベンチャーキャピタルを育成し、海外からの投資を促進する

## 製造技術

- 製造プロセスの作り込みに向けた専門家の伴走支援により製造ケイパビリティを補う体制を整える
- 研究開発の加速や製造効率化、品質担保のために、自動化技術やロボティクス等の日本の強みを活かす

## 新しいルール作り

- 産官学で新しい技術を評価する方法を明確化し、規制改革と国際調和に向けた検討を推進する

## エビデンスの活用

- 再生医療の臨床データの収集方法や妥当性のある評価方法について具体的に議論する公的な場の設置を検討する

## グローバル展開

- 国際的に魅力ある臨床開発環境や市場を日本で構築し、アジアとの連携や規制調和を推進する
- インバウンド/アウトバウンドにより日本の医療産業を発展・強化する

# 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。

### 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

### 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

# 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)

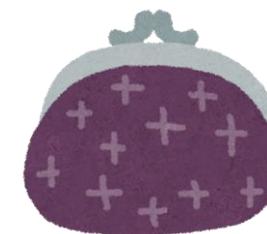
患者アクセスの向上

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？



# ご清聴ありがとうございました

---



<https://firm.or.jp/>

# 参考資料

# 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
<p>多様なモダリティで構成される再生医療等製品の「特徴」</p> <p>価値に反映すべき「特長」</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 疾患を根治できる（臨床的・直接的）</li> <li>■ 介護から解放（臨床的・間接的）</li> <li>■ 難病患者が疾患から解放（倫理的）</li> <li>■ 生産性損失が軽減され保険料収入や税収も増加（経済的）</li> <li>■ 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）</li> </ul>	<p>医療費や社会的価値に基づいた価格算定</p>
<p>多様な価値を不確実化させる「特徴」</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 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</li> </ul>	<p>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</p>
<p>価値に反映できない「特徴」</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 製造原価が高い</li> <li>■ 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）</li> <li>■ 希少疾患など患者アクセスが制限される</li> </ul>	<p>・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</p>

**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

# 薬価制度改革に向けた要望

- 新たな価格制度について、産官学での検討の場の設置
- 令和8年度薬価改定に向けた現行算定方式の改善

## 再生医療等製品の**特長**を踏まえた価格算定

### ▶ 類似薬効比較方式

#### 長期にわたり患者を観察した臨床データに基づく価格算定

- 最終段階の臨床試験のみならず、Phase1やPhase2、継続試験データ等も用いるといった運用の明確化

### ▶ 補正加算

#### 無治療期間の提供を評価する、有用性系加算要件の新設

- 利便性の向上とは異なる評価の在り方

#### 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の調整の廃止

- 単回の価格や市場規模予測のみに着目した調整の廃止

## 再生医療等製品の**特徴**を踏まえた価格算定

### ▶ 原価計算方式

#### 再生医療等製品特有のコストを踏まえた算定

### ▶ 市場拡大再算定の対象からの除外

#### 複雑な製造、個別化製造を踏まえた対応

- 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