

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対する意見

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

2021年5月12日

再生医療等製品の特徴

特徴

- 再生医療等製品は、新しいアプローチにより治癒が期待でき、今まで治療不可能であった疾患を治療可能とする等、既存の治療概念を大きく変える可能性がある
- 再生医療等製品は単回投与・移植等により、効果が長期にわたり持続する可能性があり、患者さん及び医療従事者等にもたらすベネフィットが大きい
- 再生医療等製品は、ヒトの細胞に培養等の加工を施したもの（同種細胞、自家細胞、体性幹細胞、iPS/ES細胞等）及び遺伝子治療を目的としてヒトの細胞に特定の遺伝子を導入して使用するものなどの多様性があり、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

コストの特徴

- ロットを構成しない自己細胞由来製品や1ロットの製造量が限定される再生医療等製品では、技術的にスケールメリットを得にくい
- 生きた細胞や組織（凍結保存も含む）を製品として使用するため、製品の品質を保持するための設備、製造過程・出荷時における多様な検査、保管や輸送に関するコストを要する
- 製品化には、細胞培養等において高度な技術を習得した人材の育成・確保が必要である
- 細胞の培養、分化誘導方法等も含めた複数の知財を利用するため、高額な技術ライセンス料が必要である
- 製造施設・設備機器の転用が極めて困難である

再生医療等製品の原価計算方式における要望

- 再生医療等製品のコスト構造は医薬品とは異なり、原価計算方式で再生医療等製品に特徴的な経費については、すべて認めていただきたい。
- 製品固有のコスト構造に対応した原価の課題
 - 再生医療等製品では、医薬品と同様の評価試験の実施、開発期間/費用、市販後の安全管理が求められている。また、**医薬品以上に品質の均一性に配慮が求められるが、費用が認められていない事例がある。**
(例えば、製造過程ごとに高コストの工程内検査が課せられている。)
 - 再生医療等製品の特徴的な費用は個々の製品によって大きく異なり、**特に製造設備は当該製品専用**である。しかしながら、製造に必要な設備費用が認められていない事例がある。
 - 再生医療等製品の算定は医薬品の事例、特定保険医療材料の事例があるが、いずれの例に倣っても**再生医療等製品の供給に必要なコスト、製品の価値を十分に反映できないことがわかってきた。**

再生医療等製品のイノベーション評価に関する要望

- 再生医療等製品については、保険収載時には製品の特性上、限定的な評価しか得られなかった場合、保険収載後に追加エビデンスが得られた段階で再度評価できるような新たな仕組みを導入いただきたい。
- 再生医療等製品の使用対象患者は極めて少ないことから、臨床試験デザインや症例数設定において制限を受けざるを得ず、その結果、エビデンスレベル等の観点により保険収載時の評価が限定的となる場合がある。
- 再生医療等製品は、単回投与で長期間効果が持続するものが多いが、保険収載時には限られた試験期間における有効性データで評価されることなど、再生医療等製品が有する真の価値を保険収載時点では適切に評価することが困難な場合が多い。
- 現行ルールでは収載後に再生医療等製品が有するイノベーションを適切に評価できる仕組みがあるとは言い難い。

再生医療等製品の価値を反映させるための新たな算定方式

- 再生医療等製品は、治療効果が長期に亘って持続する等、既存の治療概念を大きく変える可能性があるが、現状の算定方式ではこれらの多面的な価値を十分に価格に反映できない制度上の限界が存在する。
- 上記の点を踏まえ、製品固有の価値を企業自らが立証し、再生医療等製品が持つ本質的な価値を柔軟に価格に反映できる新方式を提案したい。

再生医療等製品の本質的な価値を柔軟に反映できる算定方式（イメージ）

