

## 再生医療等製品の医療保険上の取扱いについて

再生医療等製品の保険適用に係る取扱いについては、平成 26 年 11 月 5 日の中医協総会において、以下のとおり了承されたところ。

<平成 26 年 11 月 5 日 中医協総 - 2 - 1 (抜粋)>

### 1. 保険適用に係る今後の対応について

再生医療等製品の保険適用に関する当面の間の対応

- ・ 薬事法改正後に承認（条件・期限付承認を含む。）された再生医療等製品については、保険適用の希望のあった個別の製品の特性を踏まえ、医薬品の例により対応するか、医療機器の例により対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断
- ・ 薬価算定組織又は保険医療材料専門組織で償還価格について検討
- ・ 上記検討の結果を踏まえ、中医協総会で薬価基準又は材料価格基準に収載するかを審議

再生医療等製品に関する知見が蓄積した後の対応

- ・ 再生医療等製品の保険上の取扱いに関し、独自の体系を作るかどうかなどについて、引き続き中医協総会で検討

令和 3 年 9 月 27 日に以下の再生医療等製品が薬事承認され、製造販売業者より保険収載を希望する旨の申出がなされている。

<アロフィセル注>

製造販売業者： 武田薬品工業（株）

一般的名称： ダルバドストロセル

適 応 症： 非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療。ただし、少なくとも 1 つの既存治療薬による治療を行っても効果が不十分な場合に限る。

今般、平成 26 年の中医協了承に基づき、これらの再生医療等製品の取扱いについて審議するもの。

## 再生医療等製品の取扱いについて

類別	ヒト細胞加工製品（ヒト体性幹細胞加工製品）
一般的名称	ダルバドストロセル
収載希望者	武田薬品工業（株）
販売名	アロフィセル注
形状、成分、分量等	成人の皮下脂肪組織に由来する間葉系幹細胞を単離・培養したヒト（同種）体性幹細胞加工製品
承認区分	新再生医療等製品（希少疾病用再生医療等製品）
効能、効果又は性能	非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療。ただし、少なくとも1つの既存治療薬による治療を行っても効果が不十分な場合に限る。
用法及び用量又は使用方法	通常、成人にはヒト間葉系幹細胞として、1回量 $120 \times 10^6$ 個（4バイアル（24mL）全量）を、最大で原発口2つまで、二次口3つまでの瘻孔に対して、搔爬等の処置を行った後に投与する。
医療保険上の取扱い（案）	
<p>本品目については、審査報告書において、「医薬品と同様に薬理作用による治療効果を期待して肛門周囲複雑瘻孔の瘻管内壁に直接局所投与する再生医療等製品」とされていることから、医薬品の例により対応することとし、薬価算定組織において償還価格について検討し、中央社会保険医療協議会総会において薬価基準への収載について審議することとしてはどうか。</p>	

## 製品概要

販売名	アロフィセル注
使用目的	<p>本品は、健康成人の皮下脂肪組織に由来する間葉系幹細胞を単離・培養して得たヒト（同種）脂肪組織由来幹細胞から構成され、医薬品と同様に薬理作用による治療効果を期待して複雑痔瘻の瘻管内壁に直接局所投与する再生医療等製品である。</p> <p>脂肪組織由来幹細胞は、炎症部位において、炎症性サイトカインの放出抑制、T細胞増殖抑制、制御性T細胞の誘導等の免疫調節作用を発揮することが示唆されており、本品はクローン病による複雑痔瘻に対して有効性を発揮することが期待される。</p>
主な使用方法	<p>【用法及び用量又は使用方法】</p> <p>通常、成人にはヒト間葉系幹細胞として、1回量 <math>1.20 \times 10^6</math> 個（4パイアル（2.4 mL）全量）を、最大で原発口2つまで、二次口3つまでの瘻孔に対して、搔爬等の処置を行った後に投与する。</p>
主な有用性	<p>抗菌薬、免疫調節薬又は抗TNF製剤のうち1つ以上に抵抗性であった212例の複雑痔瘻を有する患者を対象とした無作為化二重盲検海外第 相試験において、主要評価項目である24週時点での複合寛解率は49.5%（95%CI：[40.1, 59.0] %）であり、プラセボ投与群と比較して統計学的に有意に高く、その群間差は15.2%（97.5%CI：[0.2, 30.3] %、p値=0.024）であった。また、副次評価項目である52週時点における複合寛解率は54.2%（95%CI：[44.8, 63.6] %）であり、プラセボ投与群と比較して統計学的に有意に高く、その群間差は17.1%（95%CI：[3.9, 30.3] %、p値=0.012）であった。</p> <p>抗菌薬、免疫調節薬又は生物学的製剤のうち1つ以上に抵抗性であった22例の複雑痔瘻を有する患者を対象とした非盲検非対照国内第 相試験において、主要評価項目である24週時点での複合寛解率は59.1%（90%CI：[41.8, 76.3] %）であった。また副次評価項目である52週時点における複合寛解率は、68.2%（90%CI：[51.8, 84.5] %）であった。</p>
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. クローン病患者における複雑痔瘻に関連する十分な知識及び経験を有する医師が、本品の使用方法に関する技能や手技に伴う合併症等の知識を十分に習得した上で、クローン病患者における複雑痔瘻の治療に係る体制が整った医療機関において「効能、効果又は性能」並びに「用法及び用量又は使用方法」を遵守して本品を用いるよう、関連学会との協力により作成された適正使用指針の周知、講習の実施等、必要な措置を講ずること。</li> <li>2. 製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用成績調査を実施し、必要に応じ適切な措置を講ずること。</li> </ol>