

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)

2023年7月5日

FIRMの再生医療等製品の価格算定に対する意見

① 再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた独自の制度検討を求めます

- ✓ 再生医療等製品の多様性やそれがもたらす価値を適切に評価する方法を確立するための産官学で議論する場の設置
- ✓ 産官学の議論を踏まえた中医協での再生医療等製品に関する独自の制度構築

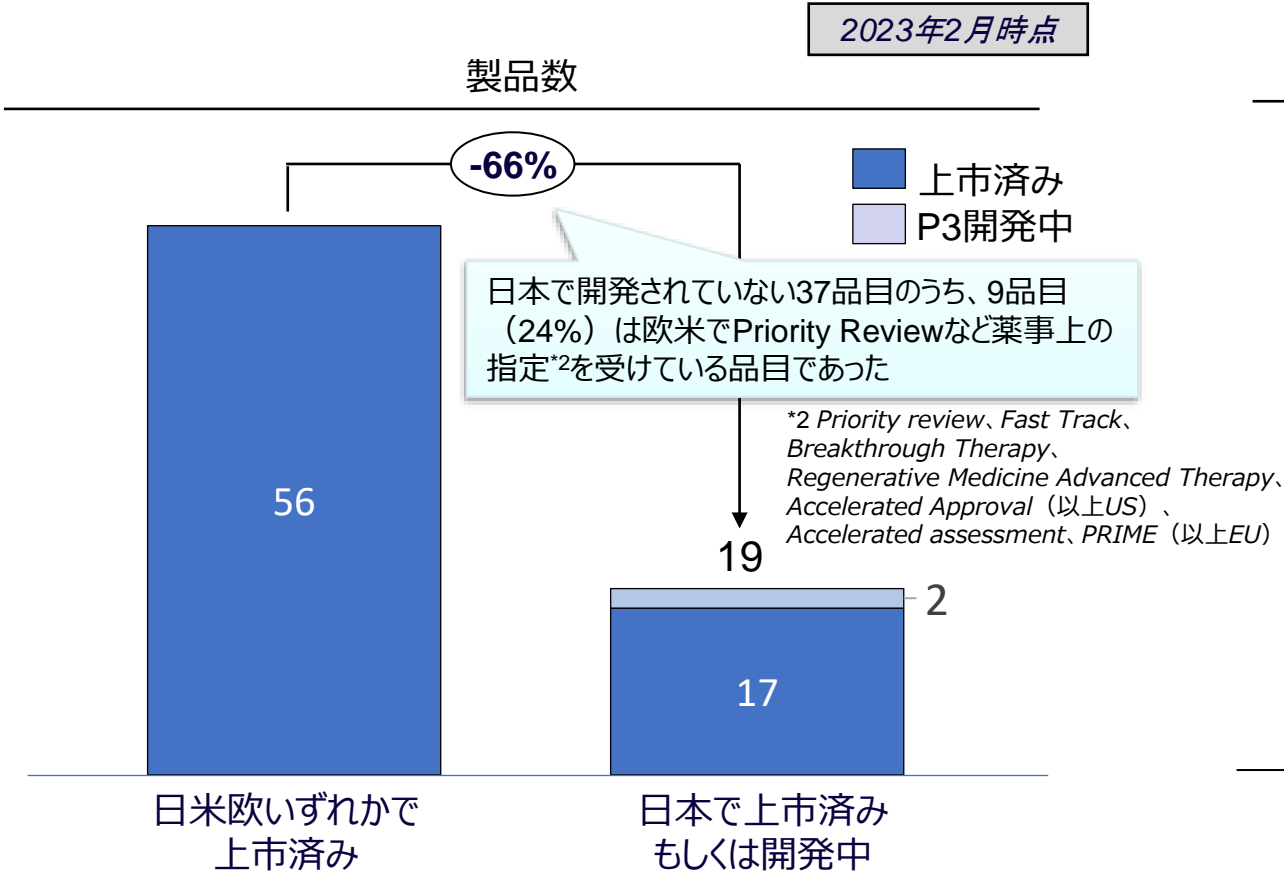
② 独自の制度導入までの期間の暫定かつ緊急的な対応として、喫緊の課題点を緩和すべく、再生医療等製品の特徴を現行算定方式に反映できる仕組みへ改善を求めます*

*改善の具体的提案は別紙資料として提出

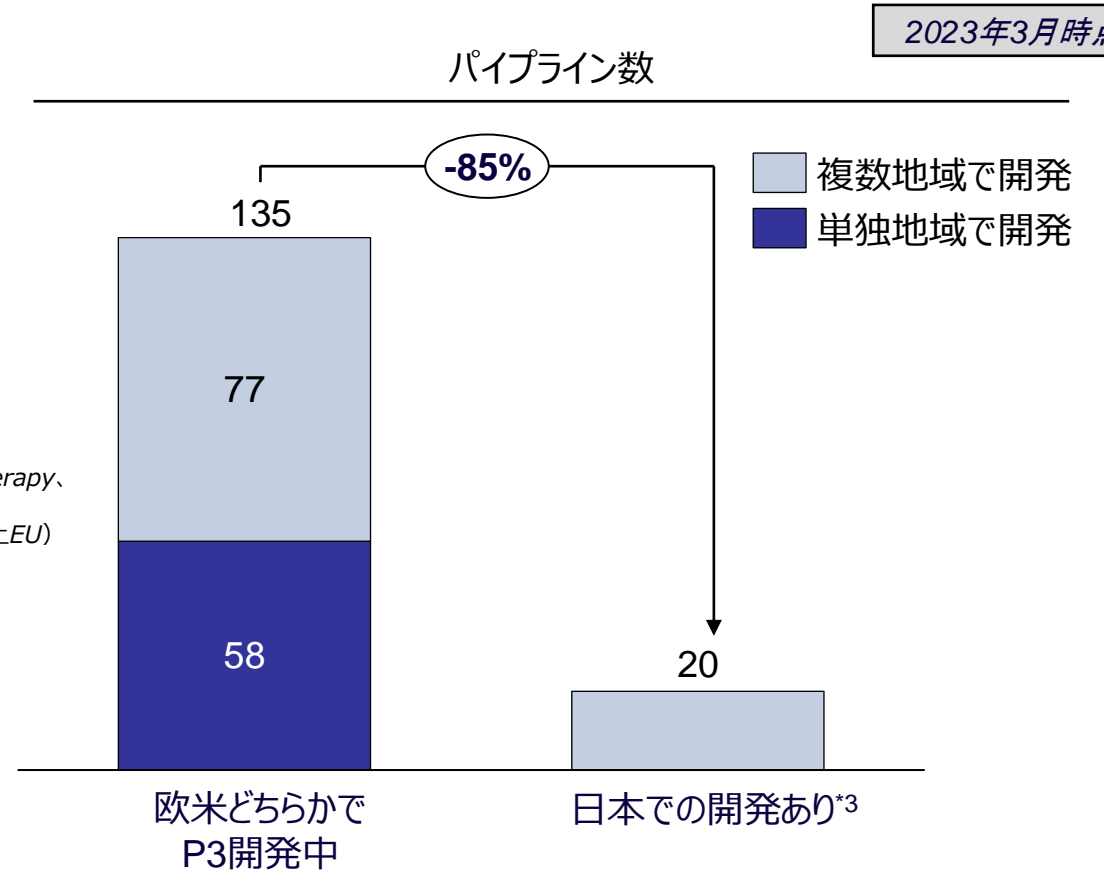
日米欧での再生医療等製品の上市・開発状況

- 日米欧既承認の再生医療等製品の内、66%は本邦では開発されていない*1
 - 欧米でP3実施中の再生医療等製品に関し、日本でも開発が行われているものは2割に満たない
- *1 欧州はEUとUKとスイス

日米欧で承認済み製品の日本での上市・開発状況

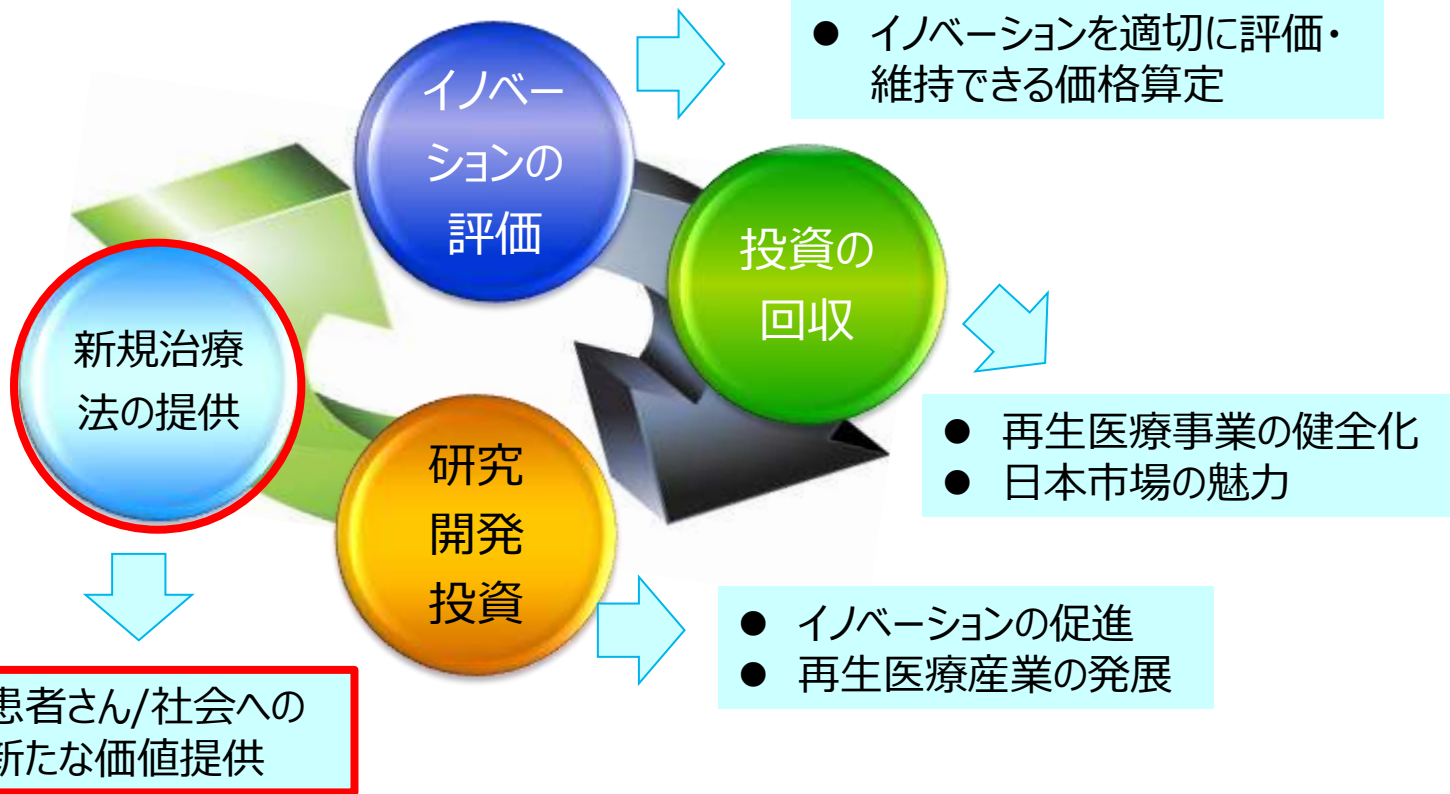


欧米でP3実施中の再生医療等製品の日本国内での開発状況

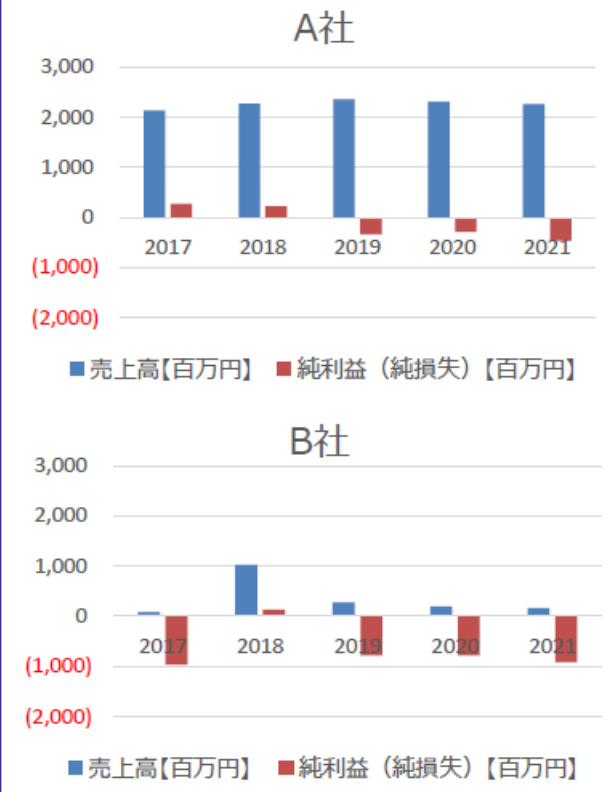


再生医療等製品独自制度の必要性について

- イノベーティブな治療を患者さんに届けるため、企業は研究開発投資のサイクルを回し続ける必要がある。
- 一方で本邦で再生医療等製品を上市しても、企業が次の研究開発投資をすると赤字になっており、将来、本邦発の製品のドラッグラグ・ロスを生まぬためにも価格制度、規制制度を含む見直しが急務と考える。

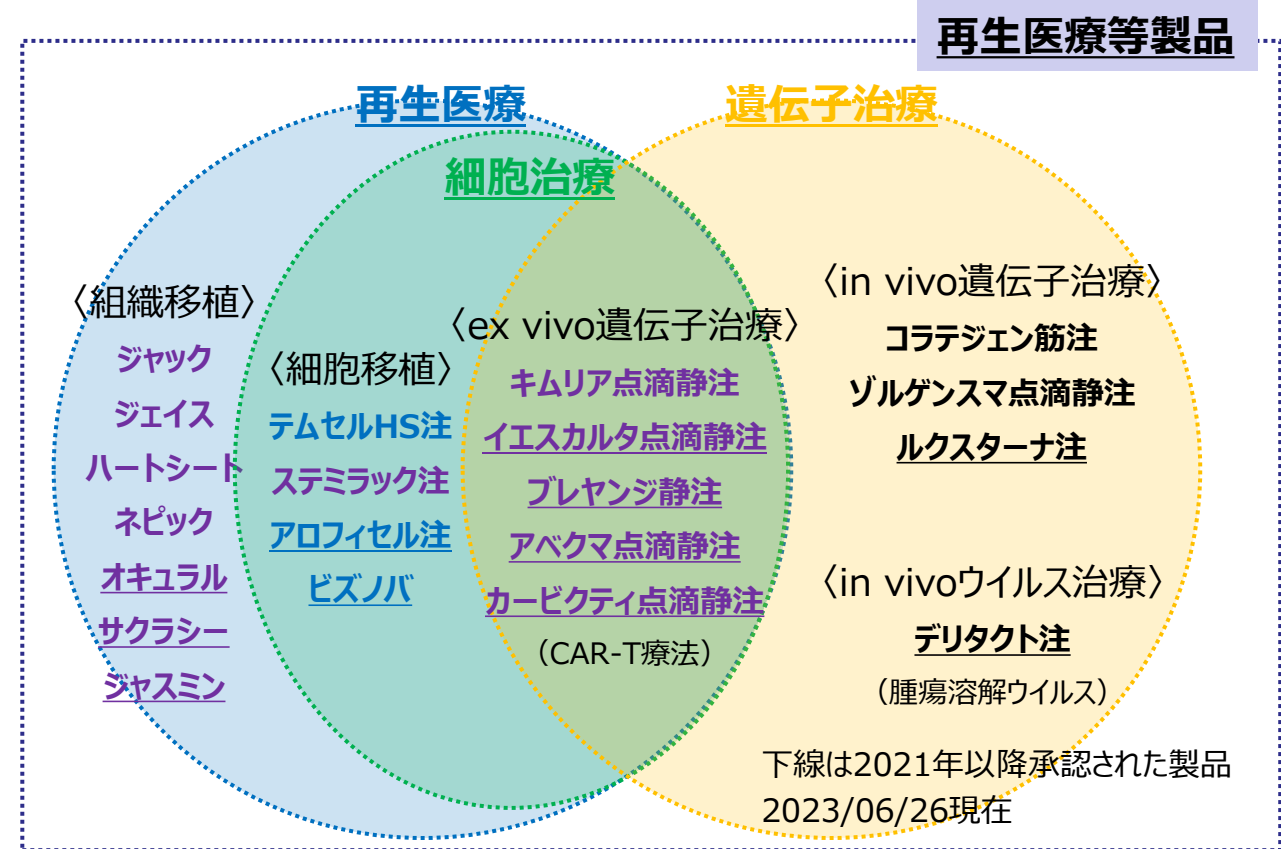
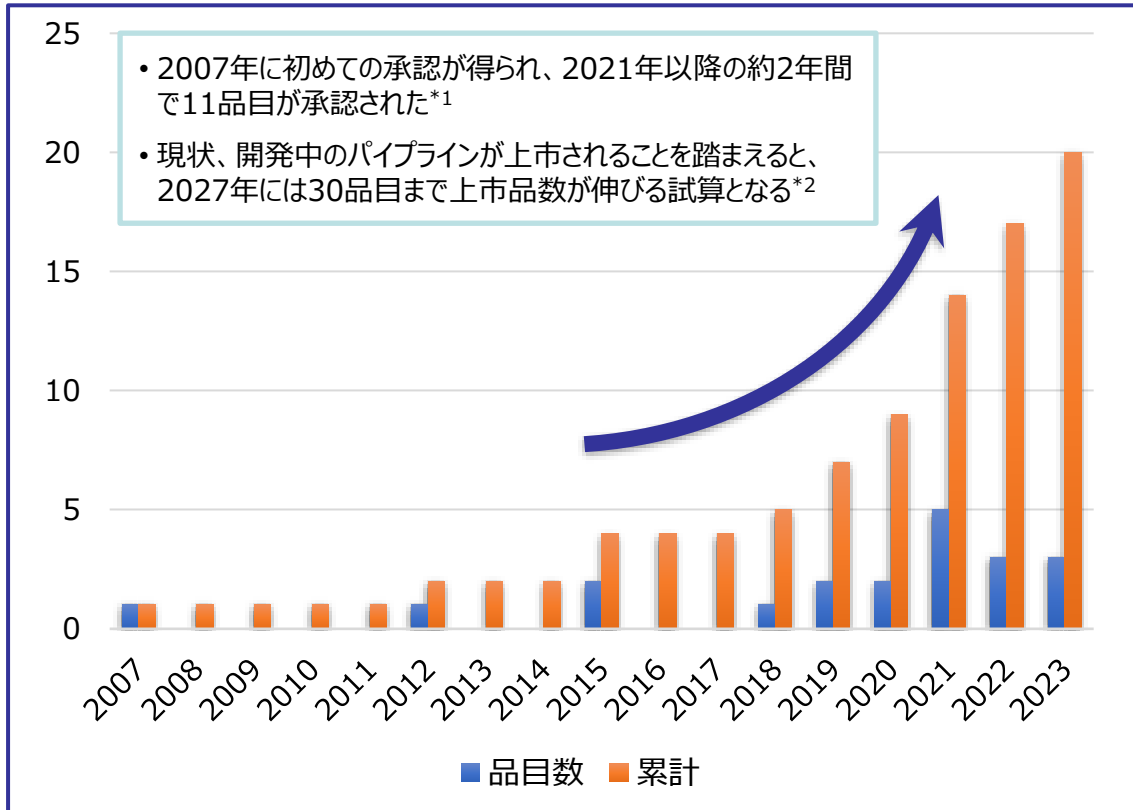


再生医療等製品を開発する企業の財務状況例



再生医療等製品におけるモダリティの多様性

- 承認品目数が20に増え（2023年6月26日現在）、今後も上市品目数が伸びることが期待される
- 再生医療等製品は多様なモダリティで構成されており、その特長・特徴を踏まえた価格制度が必要



*1 出所：グラフは公表情報を基にFIRMにて作成

*2 出所：アーサー・ディ・リトル分析

出所：第3回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 参考資料3（令和3年1月27日）、AMED 2019年度 再生医療・遺伝子治療の市場調査 最終報告書 よりFIRMにて作成

国民に提供する再生医療等製品の価値（特長）

再生医療・細胞治療

- これまで治療できなかった患者さんの救命が可能に
 - ✓ 重症熱傷
- 有効な治療法が無い患者さんに、新たな治療法の提供
 - ✓ 重症心不全、脊髄損傷、膝関節軟骨欠損

遺伝子治療

- 有効な治療法が無い患者さんに、新たな治療法の提供
 - ✓ 希少疾病、がん治療
- 少ない投与回数で有効性を示し、患者さんの負担軽減
 - ✓ 脊髄性筋萎縮症

病気の治療・治癒



患者さんへの臨床的価値（病気の治療・治癒）のみならず、介護などの社会負担の軽減や将来的な医療費負担軽減・削減の可能性など多様な社会的価値が期待される

再生医療等製品の特長・特徴の整理

- 再生医療等製品の特徴は、価値に反映すべき「特長」と、上市時点の価値を不確かなものとする「特徴」、価値に反映できない「特徴」に分類される

項目	具体例	対応
<div style="border: 1px solid black; padding: 5px; background-color: #e6f2ff;"> 価値に反映すべき「特長」 </div>	<ul style="list-style-type: none"> ■ 疾患を根治できる ■ 介護から解放 ■ 生産性損失が軽減され保険料収入や税収も増加する ■ 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 	<div style="border: 1px solid black; padding: 5px; background-color: #e6f2ff;"> 医療費や社会的価値に基づいた価格算定 </div>
<div style="border: 1px solid black; padding: 5px; background-color: #e6e6ff;"> 多様な価値を不確実化させる「特徴」 </div>	<ul style="list-style-type: none"> ■ 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 	<div style="border: 1px solid black; padding: 5px; background-color: #e6f2ff;"> 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 </div>
<div style="border: 1px dashed black; padding: 5px;"> 価値に反映できない「特徴」 </div>	<ul style="list-style-type: none"> ■ 製造原価が高い ■ 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） ■ 患者アクセスが制限される 	<ul style="list-style-type: none"> ✓原価計算方式への適切な反映 ✓各種規制の緩和 ✓診療報酬の改訂

再生医療等製品の「特徴」
多様なモダリティで構成される

意見① 再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた独自の制度

意見② 独自制度導入までの期間の暫定かつ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できる仕組みへ改善する

意見①に係る再生医療等製品の多様性及びそのもたらす価値を評価する仕組み（案）

再生医療等製品の特性を踏まえた現行算定方式の課題

課題への対応

対応の具体案*

価値に反映すべき「特長」

社会的価値まで含めた再生医療等製品の適切な価値を価格に反映する仕組みがない

医療費や社会的価値に基づいた価格算定

- 複数年分の定量化可能な価値を価格として積み上げ
 - ✓ 既存の標準治療の医療費
 - ✓ 社会的価値（生産性損失や介護費用など）
- 定量化困難な価値は補正加算に反映

多様な価値を不確実化させる「特徴」

上市時点では証明することが難しい再生医療等製品の価値が適切に価格に反映されていない

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

- 価値を収載時と上市後に分けて評価し段階的に還元
- 収載時に反映できる価値
 - ✓ 補正加算に反映（ベースは原価または類似で算定）
- 上市後に確認できる価値
 - ✓ 対象製品に直接的に還元
 - ✓ 将来の製品に還元

アカデミアの知見、行政の視点、開発製造及び製品の供給の実態等を踏まえた、産官学による多角的な検討が必要であり、その議論も踏まえた再生医療等製品に関する独自の制度構築をお願いしたい

既存医薬品と再生医療等製品の違い（特徴の全体像）

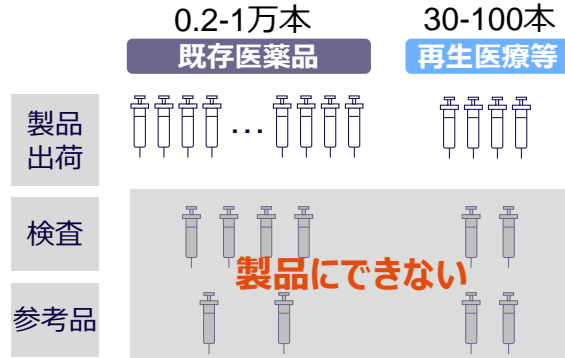


注：バイオ医薬品などで生じる問題も一部含む

既存医薬品と再生医療等製品の違い（特徴の具体例）

◆ 製造・品質に係る違い

総製造量に対して検査用製造の占める割合が高い



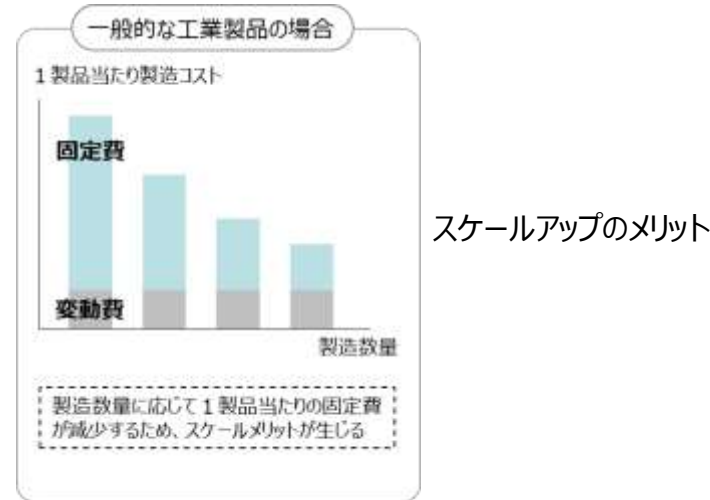
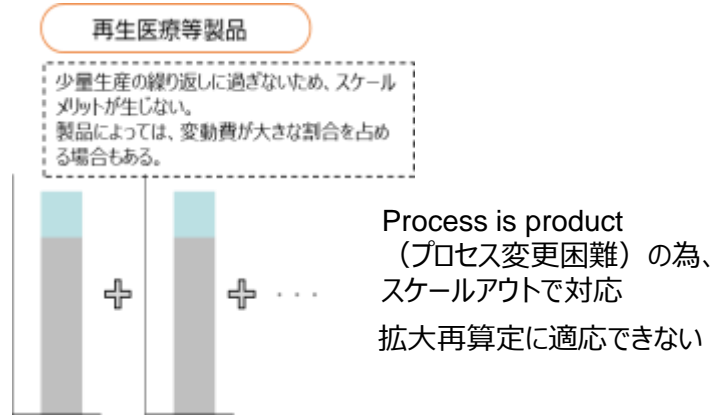
- 再生医療等製品は、既存の医薬品と比較して一回のロットで製造する量が少ない。そのため、ロットごとに必要な**検査用製剤の占める割合が総製造量に対して大きく**、コストとして重い
- 具体例（A社、他家細胞製品）
 - 1ロット平均70バック製造に対し**出荷試験16本、参考品19本保管が必要なため、製品出荷は35本（50%）となる。**（30-100本の製造を想定、30本しか細胞が取れない場合は、**出荷できずロットアウトとなる**）
 - （参考）：抗体医薬は0.2-1万本（1ml/本）に対し200-300本と数%程度

工程全体でかかる検査費用が高い

最終製品のみではなく製造工程中の検査が必要

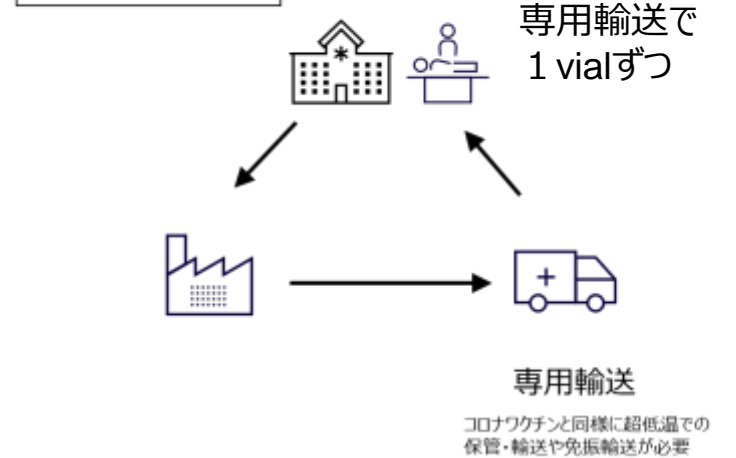
検査単価が高い（ウイルス否定試験）

スケールメリットが生じない

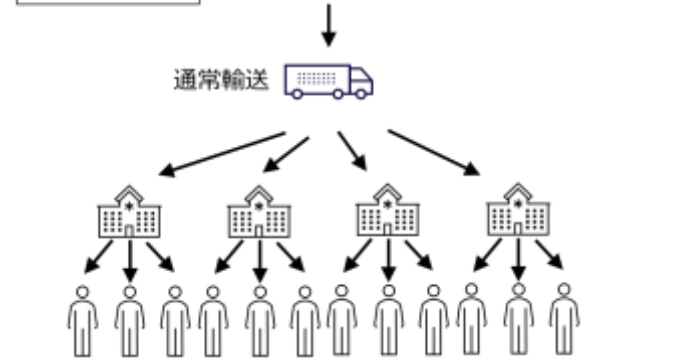


◆ 流通に係る違い

再生医療等製品の流通システム



医療用医薬品の流通システム



FIRMの再生医療等製品の価格算定に対する意見（再掲）

① 再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた独自の制度検討を求めます

- ✓ 再生医療等製品の多様性やそれがもたらす価値を適切に評価する方法を確立するための産官学で議論する場の設置
- ✓ 産官学の議論を踏まえた中医協での再生医療等製品に関する独自の制度構築

② 独自の制度導入までの期間の暫定かつ緊急的な対応として、喫緊の課題点を緩和すべく、再生医療等製品の特徴を現行算定方式に反映できる仕組みへ改善を求めます*

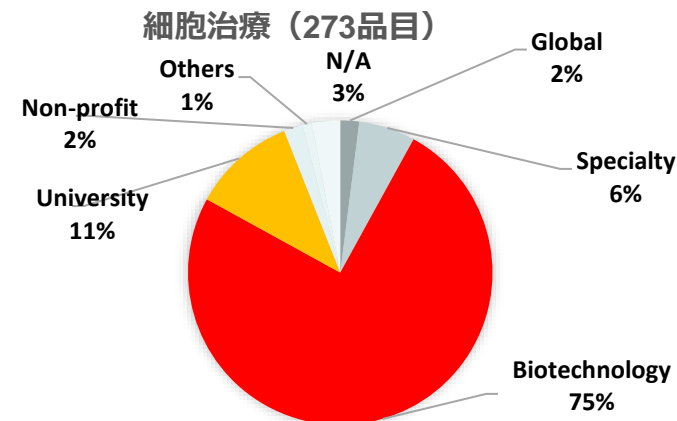
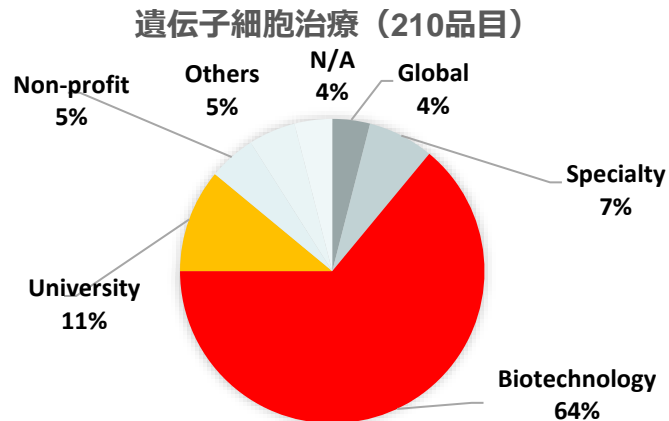
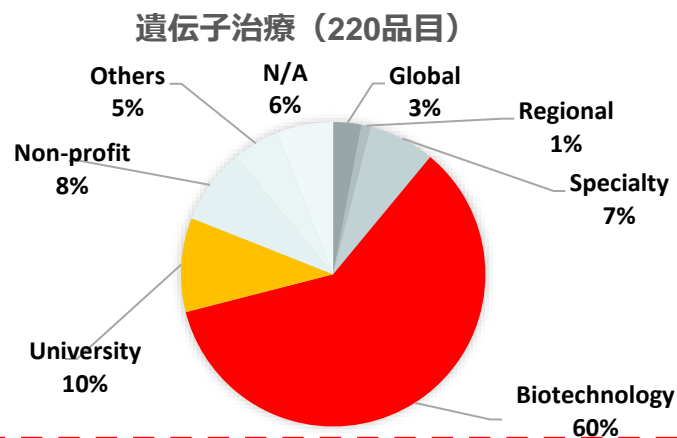
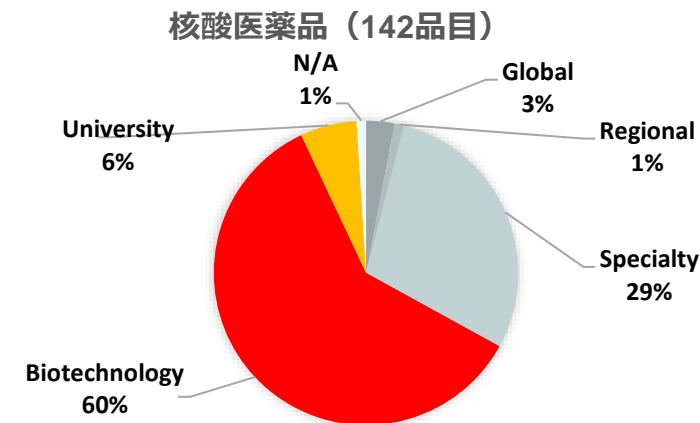
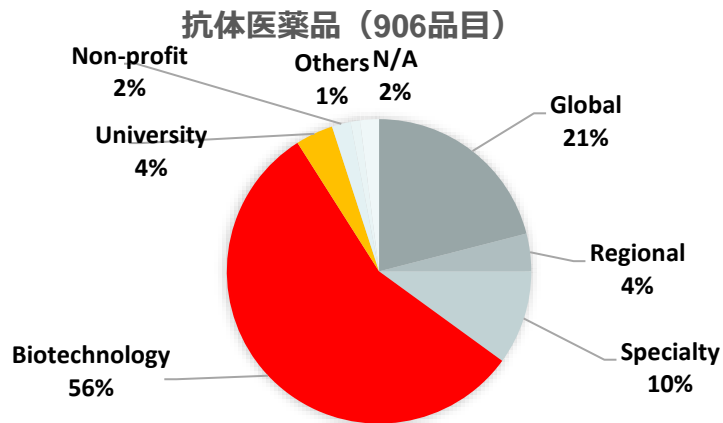
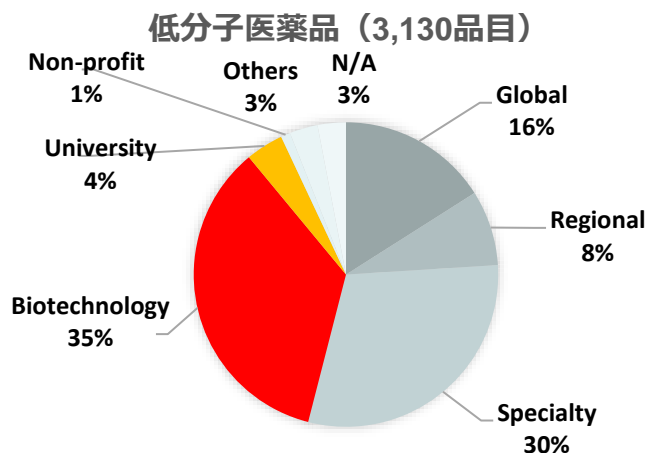
*改善の具体的提案は別紙資料として提出

補足資料

再生医療等製品モダリティ別のオリジネーター割合

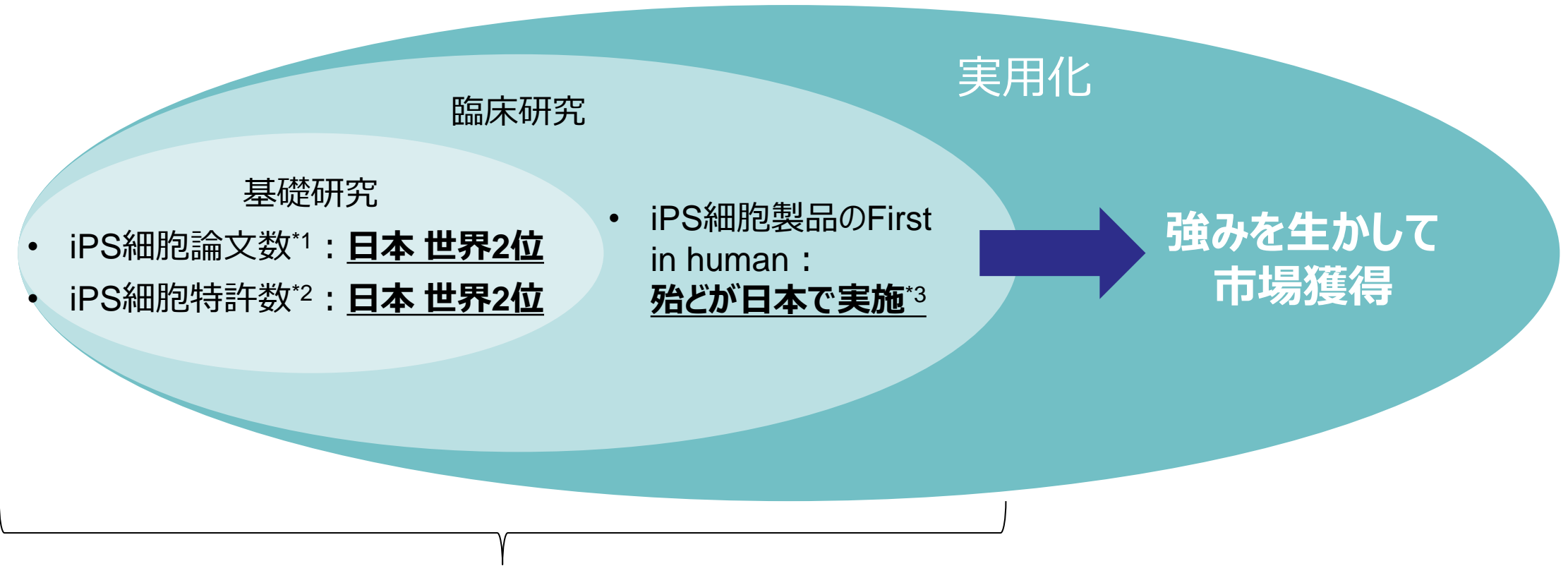
- 再生医療等製品の起源は、既存の医薬品と比較してベンチャー、小規模製薬企業やアカデミアの割合が高い

開発パイプラインのOriginator企業分類内訳(単位：%)



再生医療等製品における日本の強み

- 日本は再生医療等製品の基礎～臨床研究においては世界で見てもトップレベルの能力を持っている
- 今後、実用化を促進することで日本による市場獲得が期待される



現状の日本の強み

*1,*2：2021.3.5第1回再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会資料3（*1：幹細胞研究の高IFの論文数をカウント、*2：PCTに基づく特許出願をカウント）

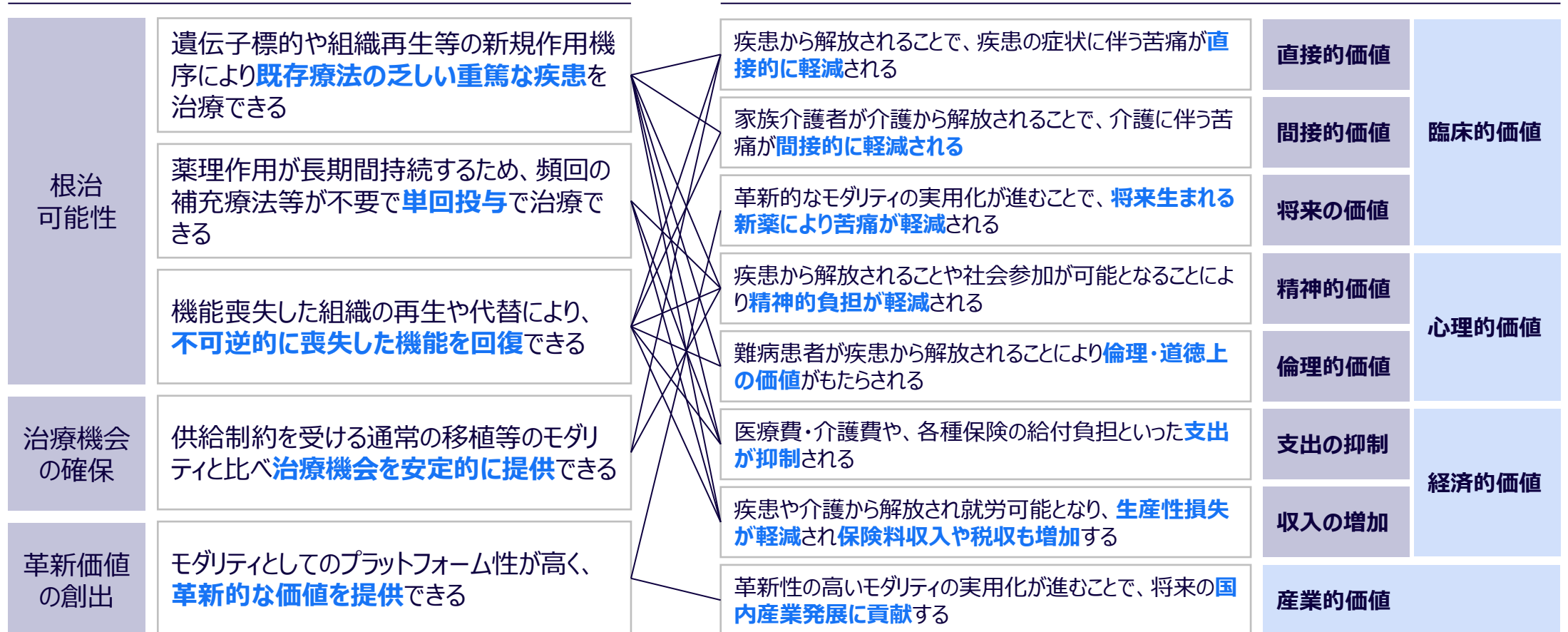
*3：再生医療の現状と展望～わが国の再生医療の国際的普遍化に向けて～

再生医療等製品の特長がもたらす価値

- 再生医療等製品の特長は、臨床・心理・経済・産業面の多様な価値をもたらす

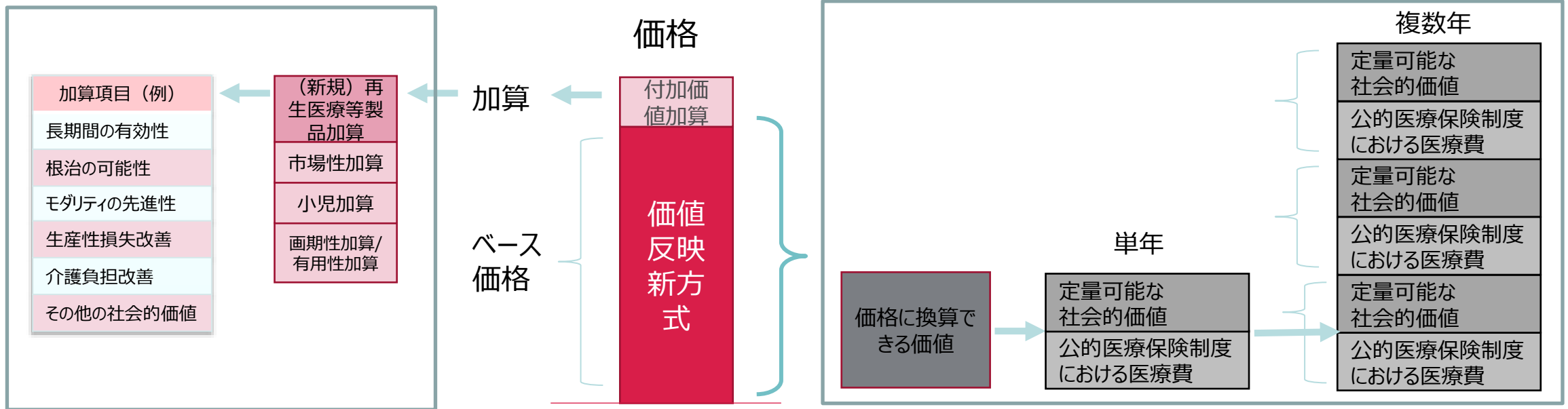
価値に反映すべき「特長」（再生医療等製品）

再生医療等製品の特長がもたらす「多様な価値」



医療費や社会的価値に基づいた価格算定（案）

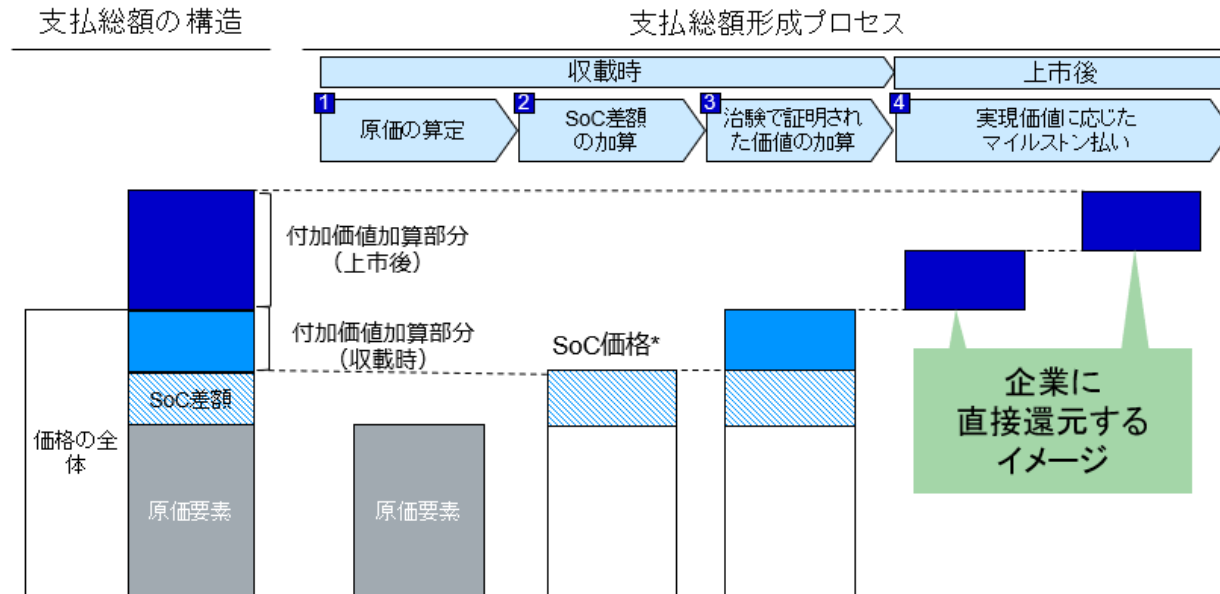
- ◆ 初期価格に再生医療等製品の価値を反映して評価する方式
 - 「既存の標準治療の医療費」を「価格に換算できる価値」と見做して価格として積み上げる
 - 当該製品の上市によってもたらされる定量可能な社会的価値（生産性損失や介護費用など）も価値として価格に反映する
 - 再生医療等製品の特徴の一つである「長期間の有効性」を考慮し、複数年分の医療費、社会的価値を価格に反映する
 - 上記で評価しきれない定量困難な再生医療等製品の価値・特徴を「付加価値加算」で反映させる
 - 再生医療等製品の価値を示すデータは企業が責任を持って提示する



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（案）

- ◆ 段階的還元型の価格算定方式として、再生医療等製品の価値を承認時と上市後に分けて評価し、企業に還元する方式
 - 全ての再生医療等製品を対象とする
 - 原価計算方式を最低保証価格とし、類似薬効比較方式による算定をベース価格とする
 - 案1同様に、原価計算方式、類似薬効比較方式は再生医療等製品の価値や特性を反映した制度へと改定した方式を使用する
 - 再生医療等製品のもたらす付加価値については、収載時に反映できるもの、上市後に確認するものに分け、段階的に還元する、収載時に反映できる価値・特徴は付加価値加算として反映させる
 - 収載時に長期効果に応じた還元額を設定し、上市後の効果達成に応じて支払う

支払総額形成の概念図



還元モデルは①対象製品に直接的に還元する手法と、②将来製品に還元する手法*が考えられる

*対象品の収益向上（製品コストの低減、排他性強化）、R&Dインセンティブ（R&Dコスト低減、多面的支援）、将来収益の向上（市場競争力の強化）、など

再生医療等製品における医療機関との連携

- 再生医療等製品の投与・移植のために医療機関との連携が不可欠
- 一般の医療用医薬品と比較して医療機関に多くの負担がかかっている
- これらの負担に対応できる専門施設での使用に限定されている

医療機関の負担（例）

- ✓ 患者自身の組織・血液の採取
- ✓ 医療機関における細胞調製
- ✓ カルタヘナ対応（例：カルタヘナ1種に該当する場合のウイルス排泄の管理）
- ✓ 専用の機器の購入、使用、維持（冷凍庫など）
- ✓ 品質管理体制の整備（書類、人員、組織体制）
- ✓ 再生医療等製品特有の「手技」（移植技術や投与の複雑性など）

抗体医薬との製造～投与の違い まとめ

既存医薬（抗体医薬）との製造～投与プロセス上の違い		概要と費用上の違い	組織移植	細胞移植	ex vivo 遺伝子	in vivo 遺伝子	
1	患者/ドナーからの細胞/骨髄液調達 & 自家では該当患者への投与が必要	<ul style="list-style-type: none"> 自家は病院で患者からの血液採取を行い、製造後に<u>該当患者に投与する必要がある</u> 他家も複数製造ごとにドナーからの入手が必要 採取時の手技料や、流通インフラ構築等の流通経費が反映されていない 	✓	自・他	✓		
2	製造の個別性が高く規模の経済が働かない	<ul style="list-style-type: none"> 自家の場合、患者個々の細胞調整が必要で、その後の製造プロセスも個別。<u>製品毎・患者ごとの少量多品種製造に対応した設備が必要で転用性が低い</u>が、設備費用に反映されていない場合あり 他家の場合もドナーごとにはばらつきがある 	✓	自・他	✓		
3	接着培養系が必要	<ul style="list-style-type: none"> 浮遊培養ではなく接着培養や三次元培養が必要であり、必要設備が大きくなりがち 	✓				
4	遺伝子編集等でライセンス料が高額になる	<ul style="list-style-type: none"> CAR-T細胞の製造にあたっては、<u>自社特許以外の遺伝子編集などの技術（例：CRISPR等）が必須になる場合がある</u>。使用には高額なライセンス費用・特許維持費が必要 			✓		
5	既存医薬よりも原材料費が高額/既存医薬にない原材料が必要	ウイルスベクター	<ul style="list-style-type: none"> CAR-T細胞製造にはウイルスベクターの使用が必須（既存バイオ医薬では不要）であるが、ウイルスベクターの調達費用が高額 			✓	
		プラスミド	<ul style="list-style-type: none"> In vivo遺伝子治療薬製造では抗体のようにプラスミドを導入してから拡大培養するのではなく、拡大培養してからプラスミドを導入する。そのためプラスミドが大量に必要で費用が高額 				✓
6	製品ごとに多様な品質検査が必要	<ul style="list-style-type: none"> 製造した細胞そのものを投与するため、<u>製品ごとに多様な品質保証試験が課される</u> 品質検査のコストが高くなるが、費用として認められない場合がある 	✓	自・他	✓		
7	固有のサプライチェーン構築が必要	<ul style="list-style-type: none"> 一般製剤のように混載での納入が難しく、特殊な配送条件が必要（低温保管・輸送、免振、チャーター便での配送等）再生医療等製品に専用のサプライチェーン構築が必要 	✓	自・他	✓	✓	
8	投与に際しての手技が複雑	<ul style="list-style-type: none"> 手術が必要であったり、製品の取り扱いなどで投与の手技が複雑。上市後も試行錯誤による改良も必要 手技料の問題や、投与体制整備のための継続的な費用が必要 	✓				
9	長期の症例追跡が必要	<ul style="list-style-type: none"> <u>長期の症例追跡に関する費用が研究開発費に反映しきれていない</u>（例：フォローアップ体制整備等） 	✓	自・他	✓	✓	
10	製造が高難度でボラティリティが高い	<ul style="list-style-type: none"> 個別性、製造難易度等から成功率が低く、製造ボラティリティが高い 製造ボラティリティに起因する損失が企業の持ち出しになり、製造原価に反映されない 製造プロセスが未確立で、開発中・上市後の製法変更コストが生じる可能性が既存医薬品より高い 	✓	自・他	✓	✓	