


再生医療等製品の保険償還価格の算定について

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	ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞		
収載希望者	JCRファーマ（株）		
販売名 （規格単位）	テムセルHS注（10.8mL1袋）		
効能・効果 又は性能	造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病		
主な用法・用量 又は使用方法	通常、体重1kg当たりヒト間葉系幹細胞として1回 2×10^6 個を、1バッグ当たり生理食塩液18mLで希釈して、4mL/分を目安に緩徐に点滴静注する。1週間に2回、投与間隔は3日以上とし、4週間投与する。なお、症状の程度に応じて、さらに1週間に1回、4週間投与することができる。		
算 定	算定方式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	630,445円
		営業利益	119,193円 <small>（流通経費を除く価格の15.9%）</small>
		流通経費	54,695円 <small>（消費税を除く価格の6.8%） 出典：「医薬品産業実態調査報告書」 （厚生労働省医政局経済課）</small>
		消費税	64,347円
	外国調整	なし	
算定薬価	10.8mL1袋 868,680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 予測販売金額	
最初に承認された国（年月）： 日本（2015年9月）		（ピーク時） 6年度 260人 35億円	
製造販売承認日	平成27年 9月18日	薬価基準収載予定日	平成27年11月26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	平成27年10月15日
原価計算方式を採用する妥当性		新再生医療等製品	類似薬がない根拠
	一般的名称	ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞	本剤と同様の効能・効果、薬理作用、組成及び化学構造等を有する既収載品はないことから、新薬算定最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病	
	ロ. 薬理作用	免疫調節作用	
	ハ. 組成及び化学構造	健康成人骨髄液から分離した有核細胞を拡大培養して得られるヒト間葉系幹細胞	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 1週間に2回、投与間隔は3日以上とし、4週間投与	
営業利益率	平均的な営業利益率（15.9%） ^{（注）} × 100% = 15.9% （注）出典：「産業別財務データハンドブック」（日本政策投資銀行）		
当初算定案に対する収載希望者の意見の要点	本製品の原価計算における製造経費等について、薬価算定組織において再度説明を受けた上で確認することとし、収載希望者より本製品の製造工程、生産設備等に関する説明がなされた。		
上記意見に対する見解	第二回算定組織	平成27年10月26日	
	収載希望者の説明も踏まえ、計上費用の妥当性が判断された。		

製品概要

販売名	テムセルHS注
使用目的	本品は、健康成人骨髓液から分離した有核細胞を拡大培養して得られるヒト間葉系幹細胞を構成細胞とし、医薬品と同様に薬理的作用による治療効果を期待して、点滴で静脈に投与される再生医療等製品である。
主な使用方法	
主な有用性	<ul style="list-style-type: none"> ○ 急性GVHDの一次治療としては副腎皮質ステロイド剤による治療が確立されているが、一次治療不応例や再燃例に対する標準的な二次治療は治療選択肢が限られている。 ○ 国内臨床試験の成績に基づき、以下の内容を踏まえ、本製品は一定の有効性が示されたと評価されている。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 副腎皮質ステロイド剤で治療効果が得られない急性GVHDに対する確立された初期治療がないこと。 ・ 国内臨床試験において、本品を投与することで「28日間以上継続するCR」を達成した被験者が認められたこと。 ・ 「28日間以上継続するCR」を達成した被験者の割合は、既存の二次治療薬に劣らない成績を示していること。 ○ なお、本品は副腎皮質ステロイド剤で十分な治療効果が得られない患者に対して使用することとされている。
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> 1. 緊急時に十分対応できる医療施設において、造血幹細胞移植に関する十分な知識・経験を持つ医師のもとで、臨床検査による管理等の適切な対応がなされる体制下で本品を使用すること。 2. 再審査期間中は、本品を使用する症例全例を対象として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。

出典：審査報告書、企業データ

(参考) 移植片対宿主病の病態

移植片対宿主病について

- 移植片対宿主病 (graft-versus-host disease: GVHD) は、輸血や同種移植を受けた後に、移植片に含まれるドナー由来の免疫細胞がレシピエントの皮膚、肝臓、消化管等の組織を異物として認識し、免疫応答により傷害することで発症する移植後合併症のひとつである。
- 造血幹細胞移植は、白血病等の造血器腫瘍に対する大量化学療法・放射線療法の併用療法や、再生不良性貧血等の血液・造血器疾患の治療のために施行されるが、移植後早期に皮疹、黄疸、下痢を特徴とする急性 GVHD が発症することがある。
- 学会による全国調査によれば、我が国における同種造血幹細胞移植は 3,500 から 3,600 件程度実施されており^{※1、※2}、治療が原則として必要となるグレードⅡ以上の急性 GVHD (発症率 34.0%^{※3}) の患者は、1,200 人程度と推定される。

既存治療について

- 学会のガイドラインによれば、急性 GVHD に対する初期治療薬は、一次治療として副腎皮質ステロイド剤とされているが、約半数では無効であり、一次治療不応例や再燃例に対し、二次治療としてステロイドパルス療法や抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン、シクロスポリン、タクロリムス等の免疫抑制剤の投与が記載されている。
- しかし、二次治療では過度の免疫抑制による感染症の併発等も多く、2 年時点の非再発死亡率は 56.3%に達すること^{※4}から、一次治療不応又は再燃の急性 GVHD に対する標準的な二次治療は治療選択肢が限られているとされている。

※1 日本における造血細胞移植. 平成 25 年度 全国調査報告書. 日本造血細胞移植データセンター/日本造血細胞移植学会

※2 日本における造血細胞移植. 平成 26 年度 全国調査報告書. 日本造血細胞移植データセンター/日本造血細胞移植学会

※3 日本造血細胞移植学会. 平成 20 年度全国調査報告書. 日本造血細胞移植学会データセンター. 名古屋. 2009

※4 Biol Blood Marrow Transplant 2013; 19: 1183-89