

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）

2019年7月24日

# 再生医療等製品の特徴

- 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**
- 再生医療等製品は、製品自体のシェルフライフ（使用・有効期限）が極端に短い場合があるため、**出荷から投与されるまでの時間的制約**がある
- 先端的な医療技術であるため、使用に当たり医療従事者が各製造販売業者の準備する**トレーニング**を受ける**必要**がある場合や、**高度な医療設備を有する医療機関に使用が限定される**場合がある
- 事業上のサプライチェーンが複雑になりやすく、数多くの知財を含む場合が想定されるため、**単一企業ですべてをまかなうことが難しい**

# 再生医療等製品に係るコストの特徴

- 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**
- 製造施設・設備機器の**転用が極めて困難**である
- 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
- 遺伝子組み換え製品については、製造過程および輸送過程において**ウイルス等の拡散防止対策も必要**となる
- 細胞培養等には、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、**技術ライセンス料が必要**な場合がある

# 再生医療等製品に係るコストの特徴

低分子医薬品	再生医療等製品	再生医療等製品に係るコストの特徴			
		原材料	製造	品質検査	物流
1ロット数万～数十万錠。生活習慣病など患者数が多い疾患が対象。長期間投与	1ロットの製造量が限定される（1ロット:1～数百）。患者数が少ない疾患が対象。単回～少ない投与・移植回数	製造量が限定されるため原材料費が割高となる	自動化・大量生産が難しい。スケールメリットが得にくい。製造施設・設備機器の転用が極めて困難	ロット単位で実施する検査費（無菌性、安定性等）を少ない単位で負担	高額で特殊（拡散防止、温度管理）な物流コストを患者毎（1投与・移植毎）に負担
滅菌可能	滅菌不可能。混入・拡散防止の必要性	無菌性が担保された原材料のコスト高	清浄度の高い特別な施設を設置・維持管理するコスト。混入防止に配慮した専用スペースでの製造	無菌性を確認する試験コスト	拡散防止に配慮した特別な輸送に掛かるコスト
化学物質	生細胞・遺伝子	生物由来材料の高いコスト（自家以外）	生きたものを製造するため、24時間/週7日の管理が必要となりコスト増（人件費含め）	定期的に安全性等を確認する生物試験は概して高額。厳格な温度管理	凍結・低温下等、温度の維持・管理下での輸送に掛かるコスト
化合物特許	複数の知財・技術ライセンス料	iPS細胞、CAR等	分化方法 遺伝子編集（クリスパー等）、ベクター、凍結剤	—	—



# 再生医療等製品の価格算定について

- 再生医療等製品は厳重な製造工程管理・品質管理を要する等、生産の効率化が困難であり、従来の医薬品・医療機器とは製造や流通のコスト構造が大きく異なるため、**既存の算定方式の考え方では多様な再生医療等製品の特殊性を適切に反映できていない**
- 再生医療等製品は、従来の治療法と異なる革新的な治療アプローチにより、患者さんに貢献することが期待できる。今後、**再生医療等製品は別カテゴリーで、その革新性・画期性の価値を十分に反映し得る新たな価格算定方式を検討していただきたい**

# 再生医療等製品に係る補正加算

- 2019年6月26日薬価専門部会で提示された薬価算定組織の意見については、以下のとおり考える
  - 著しく単価が高いとの理由から、再生医療等製品に係る補正加算に傾斜配分を適用することは受け入れ難い
    - 再生医療等製品は、単回投与等での治療が可能となる医療技術が多く、長期間にわたり使用される既存治療とは投与回数や治療期間が異なる場合が多い
    - このような特性を踏まえれば、再生医療等製品の補正加算額と既存医薬品の投与回数や治療期間等を加味した累積補正加算額に差が生じ得る考え方は、合理性に欠けると考える

