

再生医療イノベーションフォーラム

再生医療等製品の価格算定に関する提言

2023年4月

提言内容の骨子

■ 再生医療を支える「出口（川下）支援」の強化

- 現時点では、再生・細胞医療・遺伝子治療で企業が**持続的にビジネスをできる状況に到っておらず**、再生医療の産業化に向け、**規制を含めた研究開発環境および、製品価格を含めた環境の整備が必要**である。
- 再生医療等製品は医薬品、医療機器のいずれかの仕組みで価格をつけられているが、再生医療等製品に必ずしもフィットしておらず、産業化に向けた障壁の一因となることから**「再生医療等製品特有の価値を価格に反映する仕組みの導入検討」が必要**である。
- 「再生・細胞医療・遺伝子治療を提供する**医療機関への適切な対価**」にも課題があり、日本の再生医療産業の発展のためにはそれらの課題の解決も求められていると考える。
 - ✓ 「再生・細胞医療・遺伝子治療へ期待感と支援推進」*¹および、研究開発、治療に用いる細胞・ベクターの製造基盤強化、人材育成等の「入口（川上）支援」*²が明記されているが、産業発展のための両輪の一つである「出口（川下）支援」の強化は言及されていない。
 - ✓ 一方、厚生労働省が策定した医薬品産業ビジョン2021には、「国民皆保険制度の持続性と企業としての投資回収の見込みを両立させ、グローバルでも日本の医薬品市場の魅力を維持することが重要な課題である」と記載されている。FIRMとしては、再生医療等製品の開発企業における投資回収が可能なビジネス環境を整備することを通し、再生医療等製品を持続的に上市することにより日本市場の活性化に貢献したいと考えている。

*1：骨太の方針2022、*2：新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2022

提言の背景

①再生医療は日本にとって経済成長のドライバーとなりうる

- 再生医療市場は今後年率26%で成長する萌芽期市場であり、2030年には6.9兆円に到達すると予想され、産業としての魅力度は高い（p.5）
- モダリティ別にみても再生医療・遺伝子治療などの成長が期待され（p.6）、併せて主要な周辺産業の市場も大きく成長する見込みである（p.7）
- 再生医療等製品の市場は、その革新的価値を背景にグローバルでは成長しているが、日本市場のグローバル占有率は3%程度で、医薬品市場における占有率（6%）の半分程度であり（p.8）、国内市場の成長鈍化と併せ国内企業の国内/外の市場獲得が遅れている（p.9）

②再生・細胞医療・遺伝子治療産業の国際競争 日本の遅れが憂慮される

- 日本の再生医療等製品は、例えばiPS細胞分野では基礎～臨床研究段階では世界トップレベルであり、今後実用化が促進されれば、大きな市場を獲得できる可能性は高い（p.11）
- 多能性幹細胞（ES細胞/iPS細胞）を利用した臨床試験は、国際的に増加する中で、iPS細胞については引き続き日本が1位に位置するものの、世界各国も追随している（p.12）
- 日米欧で比較した臨床試験数では、日本と欧米の開発品目数には大きな差がみられ始めている。アジアの中でも、中国、韓国は日本よりやや多い状況となっている（p.13）

③再生・細胞医療・遺伝子治療による最先端の医療が日本国民に届いていない可能性がある

- 欧米と比較して日本の製品価格が低く設定されている傾向にあり、市場としての魅力度が低下しており、将来革新的な再生医療等製品が患者さんのもとに届きにくくなることを憂慮している（p.15）
- 実際に、欧米既承認の再生医療等製品のうち、66%が日本で開発されておらず（p.16）、欧米でP3実施中の再生医療等製品に関しては、日本でも開発が行われているものは2割に満たない（p.17）

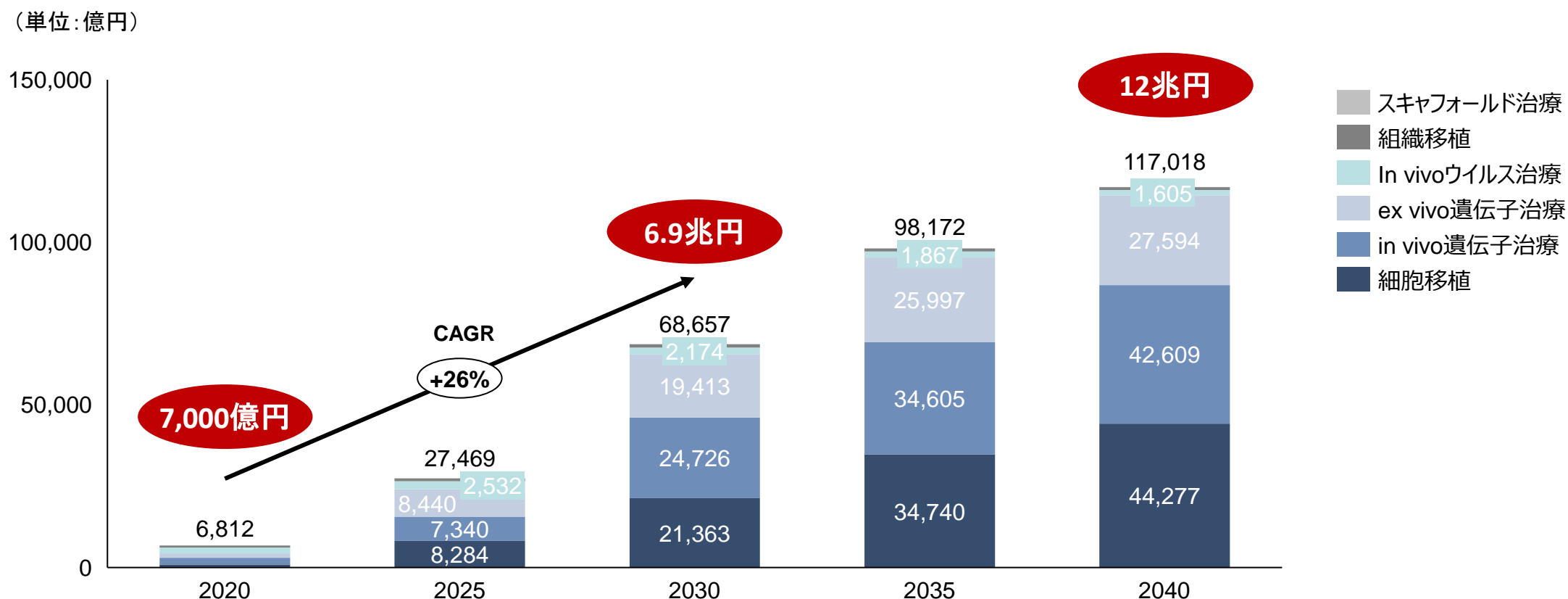
提言の背景①

日本にとって経済成長のドライバーとなりうる再生医療

再生医療等製品の市場規模（グローバル）

- 再生医療等製品は、2030年に6.9兆円、2040年には12兆円規模になる成長産業である

グローバル市場規模推計（モダリティ別） ※2021年10月時点のパイプラインベースでの試算



モダリティ別の医薬品市場規模と成長性（グローバル）

- 再生医療等製品は今後10年で最も高い成長率が期待される分野

| モダリティ | | 各モダリティの市場動向比較(グローバル) | | | |
|-------|---------------|----------------------|--------------|------------|------------------|
| | | 市場規模*2(2020) | 市場規模*2(2030) | 成長率(20-30) | 製品例 |
| 再生医療 | スキャフォールド治療*1 | 4億円 | 29億円 | 21% | Orthocell(欧州) |
| | 組織移植 | 600億円 | 1000億円 | 4% | ハートシート、ジャック、ジェイス |
| 細胞治療 | 細胞移植 | 900億円 | 2.1兆円 | 37% | テムセル、ステミラック注 |
| | ex vivo遺伝子治療 | 1,400億円 | 1.9兆円 | 30% | キムリア |
| 遺伝子治療 | in vivo遺伝子治療 | 2,100億円 | 2.5兆円 | 28% | ゾルゲンスマ |
| | in vivoウイルス治療 | 1,800億円 | 2,200億円 | 2% | デリタクト |
| 中分子医薬 | 核酸医薬 | 4,500億円 | 2.1兆円 | 17% | スピララザ |
| | ペプチド医薬 | 3.2兆円 | 4.7兆円(2025年) | 8%*3 | テリパラチド、特殊環状ペプチド |
| 高分子医薬 | 抗体医薬品 | 16兆円 | 23兆円(2025年) | 8%*3 | オプジーボ、アクテムラ |
| | タンパク質医薬 | 6.4兆円 | 10兆円 | 4% | ネスプ、エリスロポエチン |
| 低分子医薬 | 低分子医薬品 | 47兆円 | 74兆円 | 5% | 各種抗がん剤(ドセタキセル等) |

*1: 合成物質等を用いた医薬品として開発されているスキャフォールドを試算。脱細胞組織を用いたスキャフォールドは含まない、*2: いずれも予測値、*3: 20-25年の成長率を記載

周辺産業の成長性

- 再生医療等製品の市場成長を受け、今後**主要な周辺産業の市場も大きく成長する**見込み

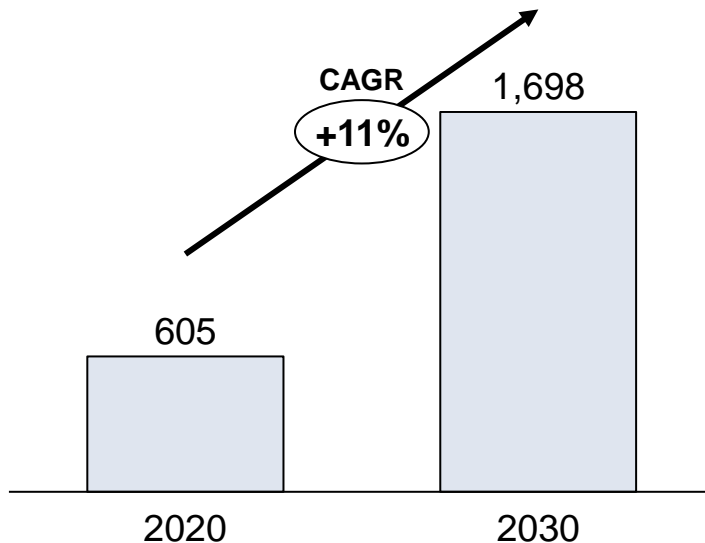
再生医療等製品の周辺産業の市場性（グローバル、推計値）

材料市場

※代表的市場として幹細胞培地市場を抜粋

（単位：億円）

幹細胞用培地（グローバル）

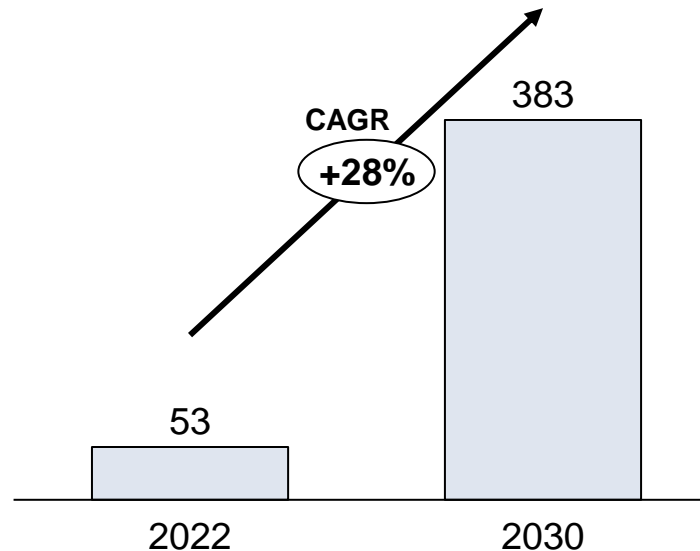


装置市場

※代表的市場として細胞自動培養装置市場を抜粋

（単位：億円）

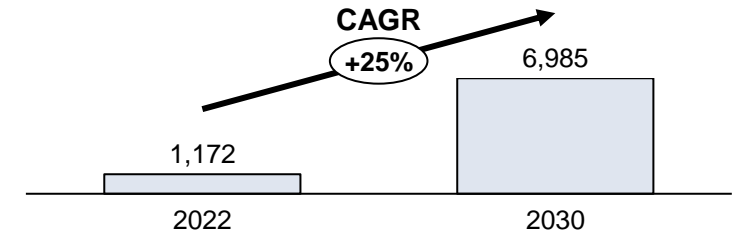
自動培養装置 市場規模推計（グローバル）



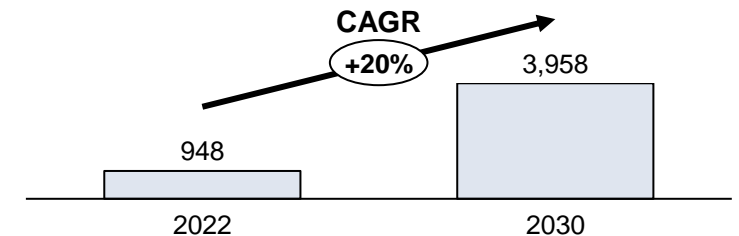
受託製造市場

（単位：億円）

細胞CDMO 市場規模推計（グローバル）



ウイルスベクターCDMO*1 市場規模推計（グローバル）



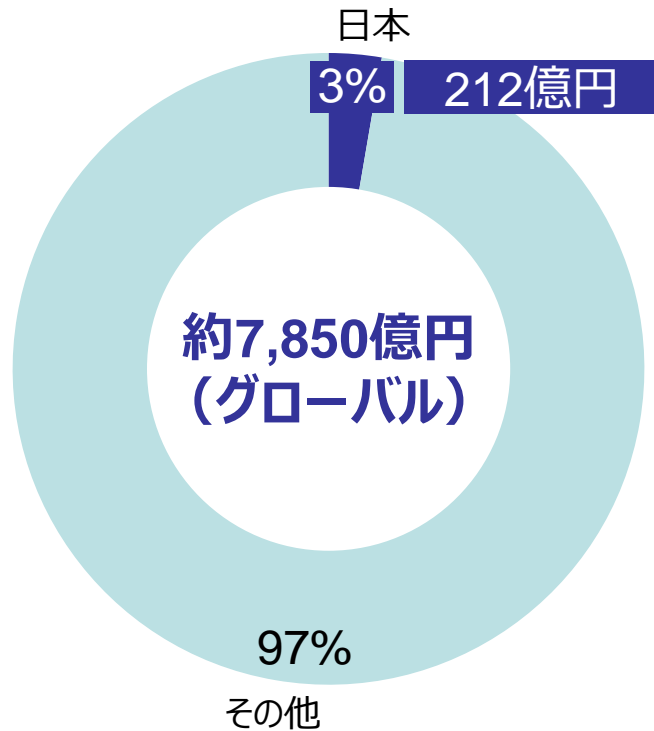
*1：ADLデータベースより算出したin vivo遺伝子治療・ex vivo遺伝子治療のエンド市場の市場規模をもとに概算。

出典：MarketsandMarkets “Cell Culture Market by Product (Media, Serum, Vessels), Equipment (Bioreactor, Centrifuge, Incubator, Autoclave), Application (Therapeutic proteins, Vaccines, Diagnostics, Stem Cells), End Users (Pharma, Biotech) - Forecast to 2025 (2020年11月発行) ”、ADLデータベースより推計

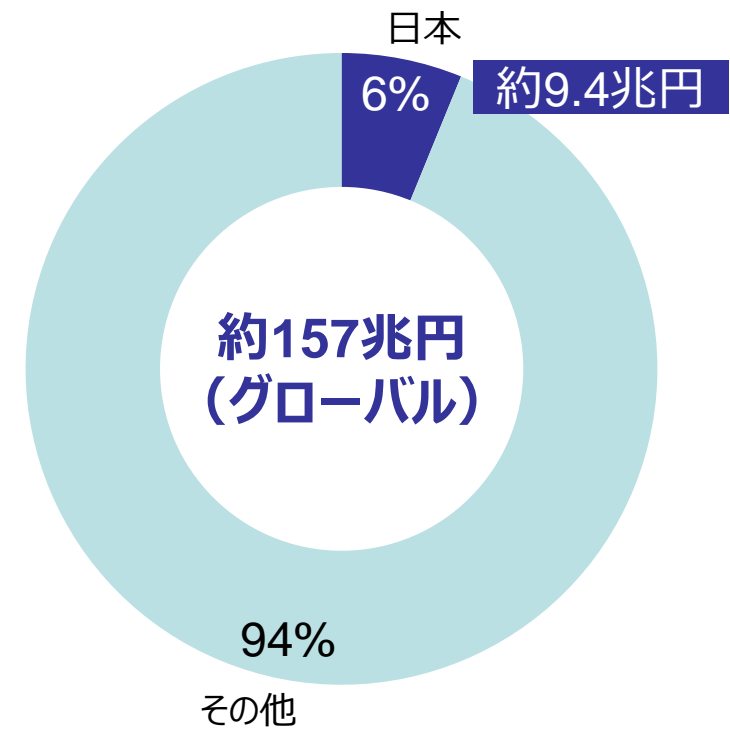
再生医療等製品の市場規模（グローバル対日本）

- 再生医療等製品の市場はその革新的価値を背景にグローバルでは成長市場である一方、日本市場はグローバルの3%程度、**医薬品市場全体に占める割合と比較しても半分程度**しかなく、立ち遅れている

再生医療等製品市場（2021年）



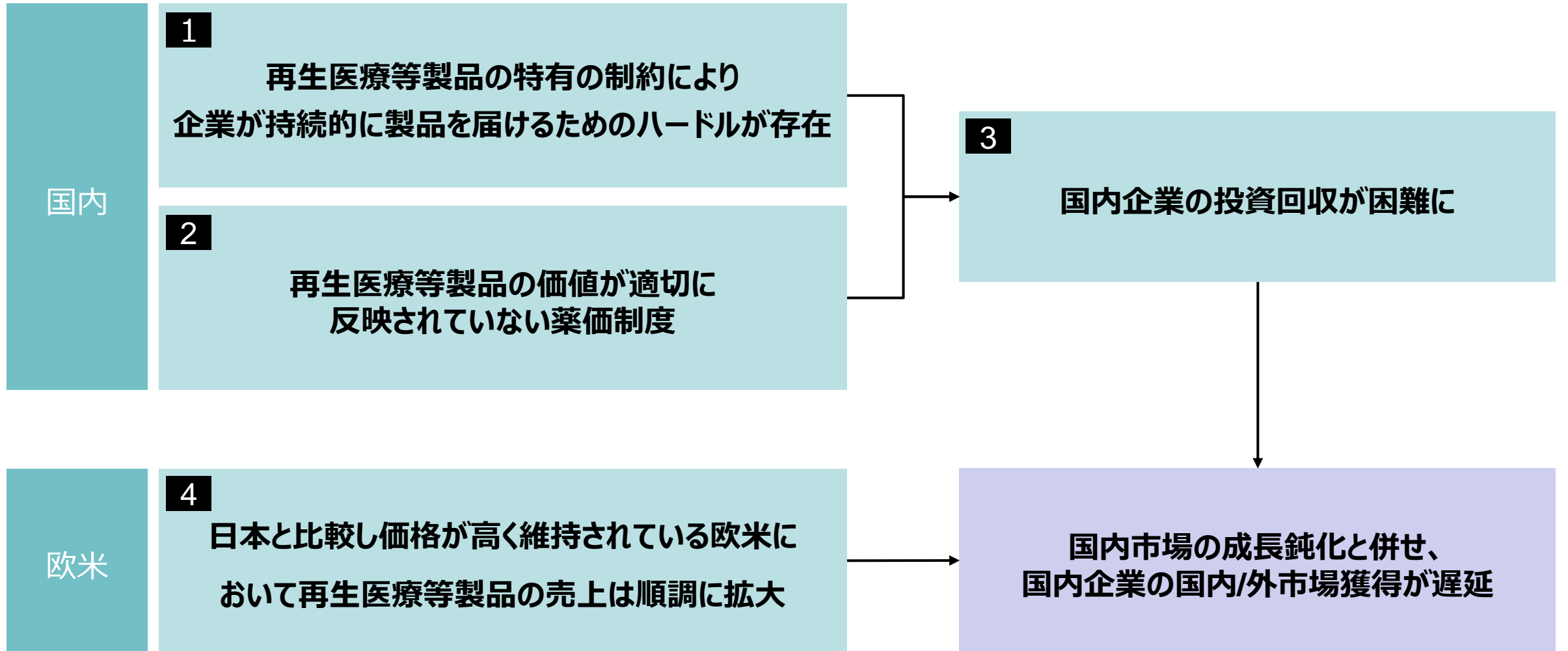
医薬品市場全体（2021年）



出所：日経バイオテック記事、ADLデータベースをもとにADL推計

出所：IQVIA INSTITUTE, The Global Use of Medicines 2022 OUTLOOK TO 2026 (1ドル=110円で計算)

我が国の再生医療等製品の市場獲得が遅れている理由

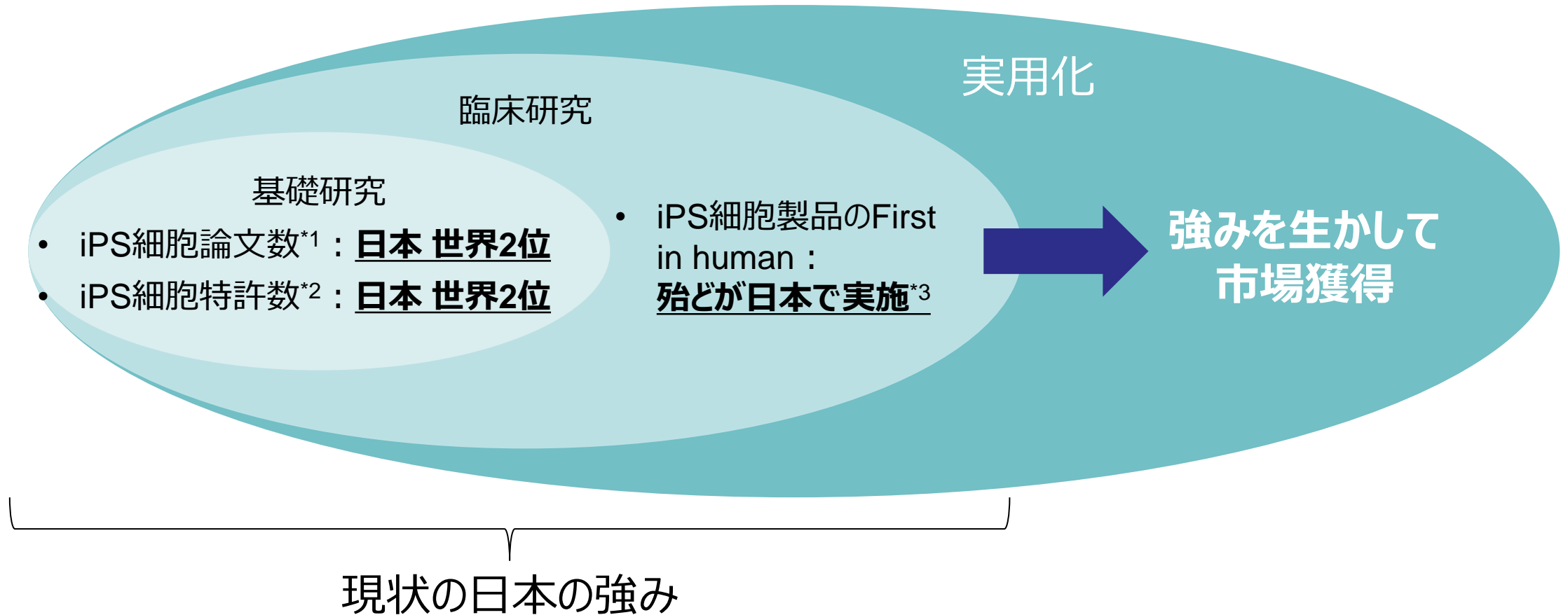


提言の背景②

再生・細胞医療・遺伝子治療産業の国際競争 日本が遅れを
憂慮

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



*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～

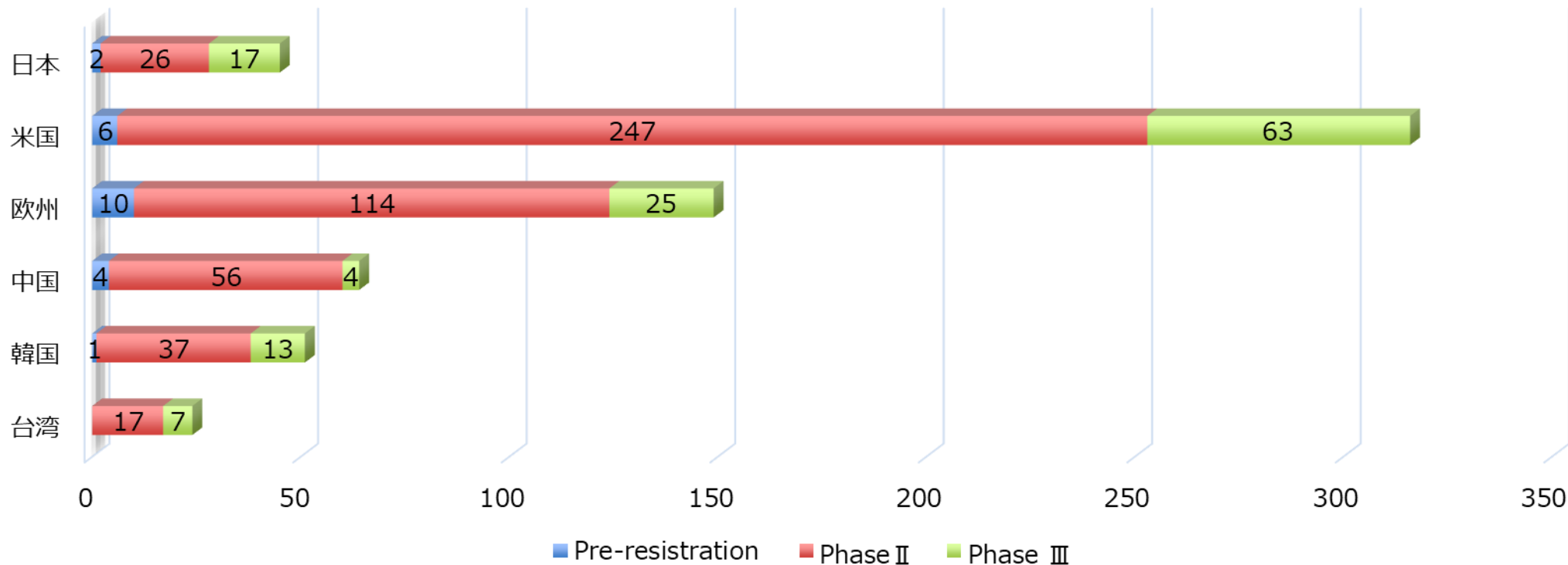
多能性幹細胞利用再生医療の臨床試験状況

- 多能性幹細胞（ES細胞/iPS細胞）を利用した臨床試験は、国際的に増加
- うち、iPS細胞については、引き続き日本が1位に位置するものの、世界各国も追随

| 国名 | 臨床試験の累積数 (2018年→2021年) | うちES細胞 | うちiPS細胞 |
|--------------|---------------------------|----------------|---------------|
| 全世界合計 | 31 → 63 | 24 → 35 | 4 → 28 |
| 主要国内訳 | | | |
| アメリカ | 10 → 21 | 10 → 12 | 0 → 9 |
| 日本 | 4 → 12 | 1 → 1 | 3 → 11 |
| 中国 | 4 → 13 | 4 → 10 | 0 → 3 |
| 英国 | 4 → 5 | 3 → 3 | 1 → 2 |
| 韓国 | 3 → 5 | 3 → 5 | 0 → 0 |
| オーストラリア | 0 → 3 | 0 → 0 | 0 → 3 |
| ドイツ | 0 → 1 | 0 → 0 | 0 → 1 |

日米欧及びアジア（中台韓）の開発品目の状況（開発相）

- 2023年2月時点での国内での第2相以降の開発品目数は45品目、今後も継続した上市品目が期待される
- 米国では316品目、欧州では149品目が開発されており、国内と欧米の開発品目数には大きな差がみられる
- 中国、韓国は日本よりやや多く、台湾は日本の半分程度である



※複数の効能で開発が進んでいる品目については、最も進んでいる相にてカウント（効能追加品目を含む）

出所：PharmaProjects

提言の背景③

再生・細胞医療・遺伝子治療による最先端の医療が
日本国民に届いていない

再生医療等製品の海外価格との比較

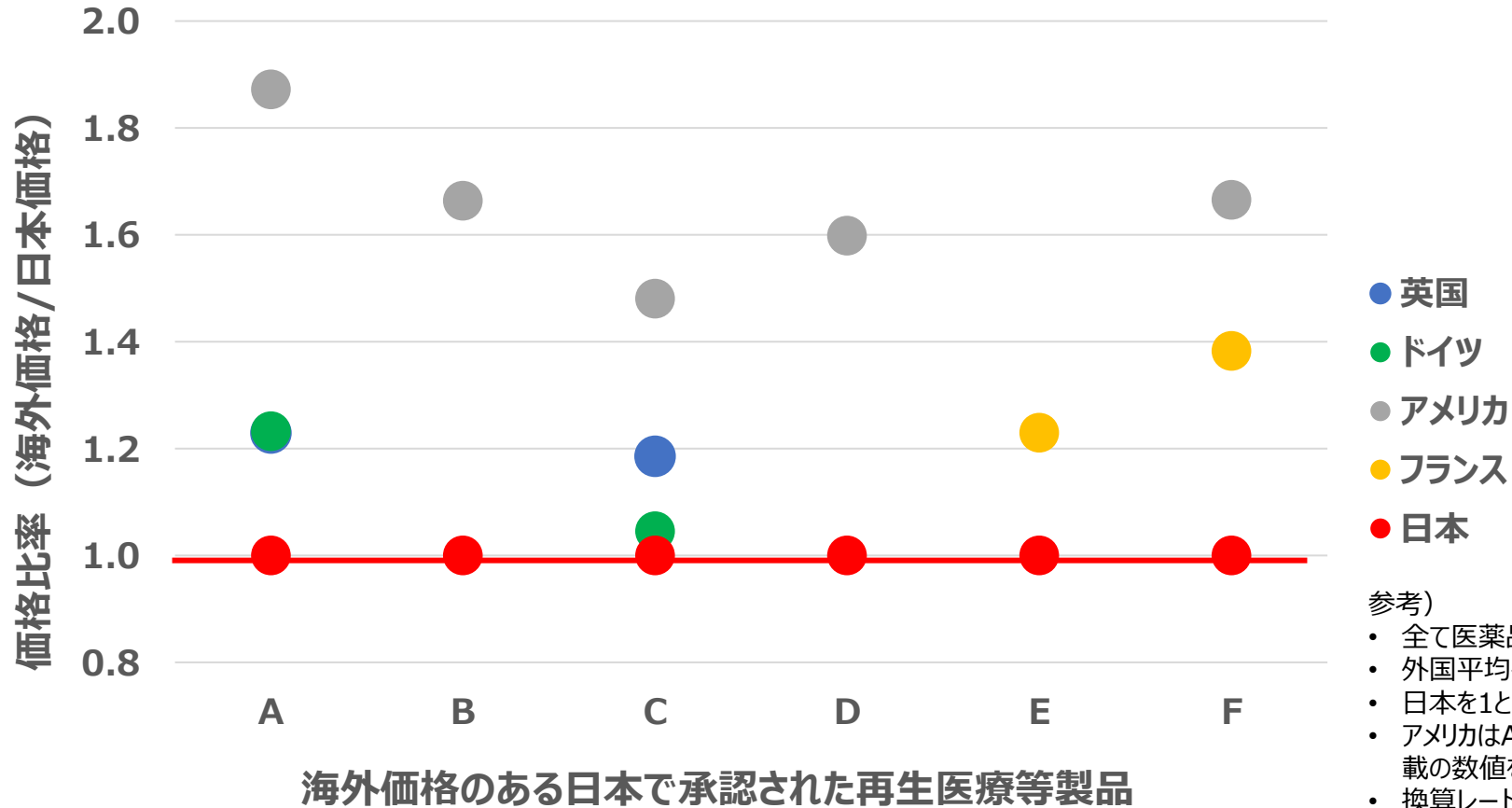
欧米と比較して、日本の価格が
一番低く算定されている



日本で新薬創出の魅力が低下し、
優先度が下がる可能性がある



革新的な再生医療等製品が患
者さんのもとに届きにくくなる



日米欧で上市されている再生医療等製品の各地域での開発状況

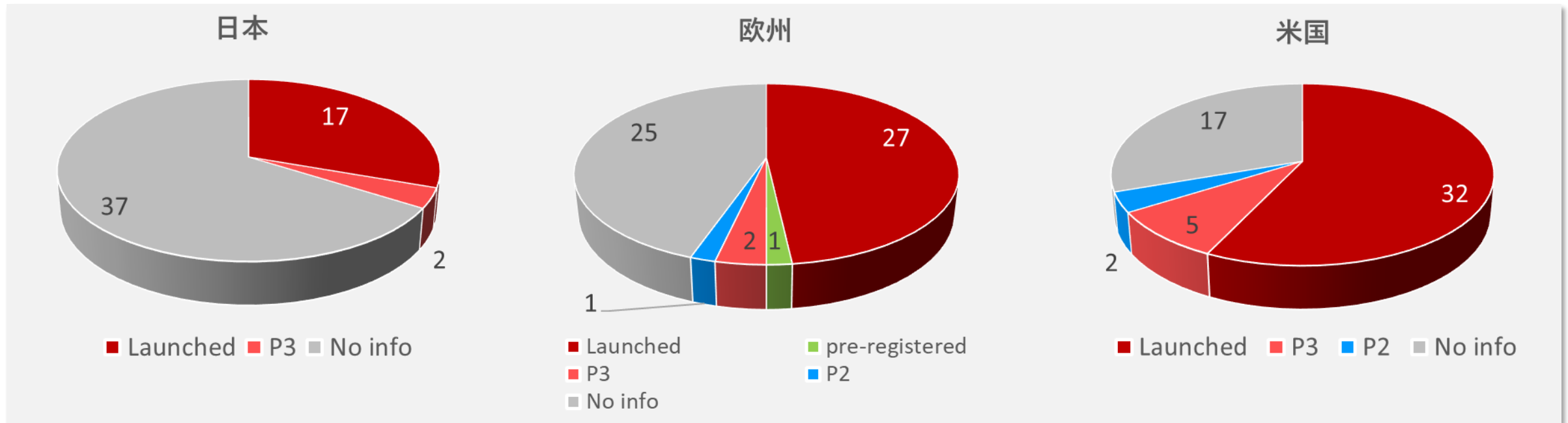
欧米既承認の再生医療等製品の内、66%は本邦では開発されていない*

* 欧州はEUとUKとスイス

日米欧いずれかの地域で上市されている再生・細胞医療・遺伝子治療薬56品目のうち、

- ✓ 日本：19品目（34%）
- ✓ 欧州：31品目（55%）
- ✓ 米国：39品目（70%）

が上市もしくは開発中（P2以降）である。



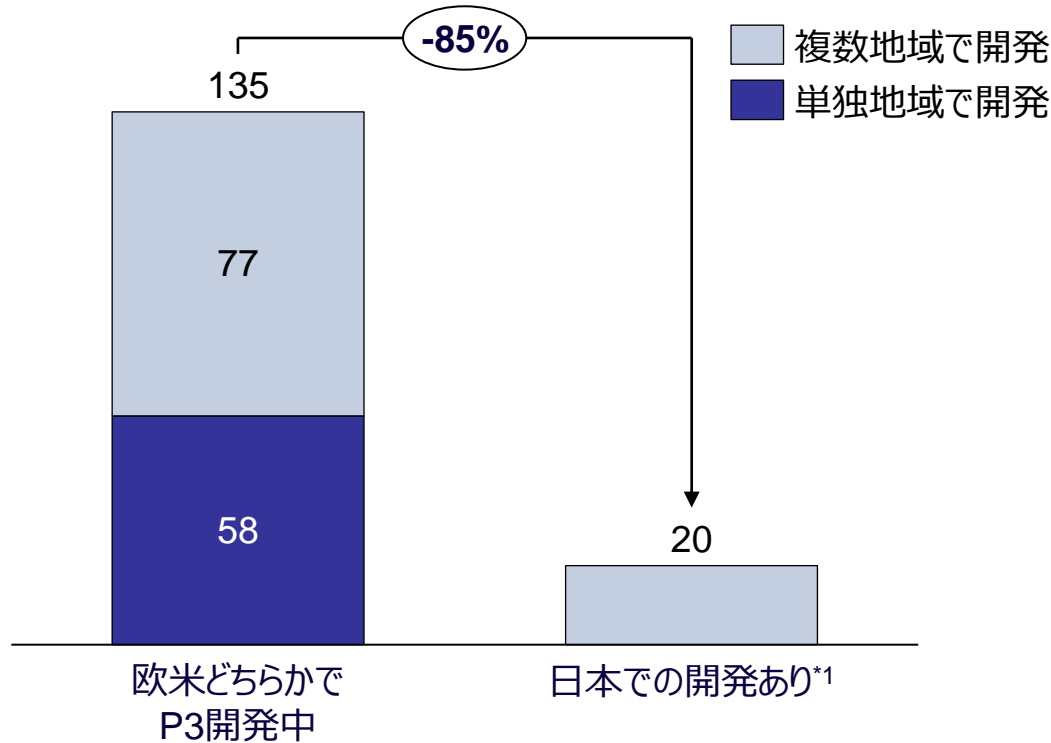
欧米P3実施中の再生医療等製品 日本での開発

- 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

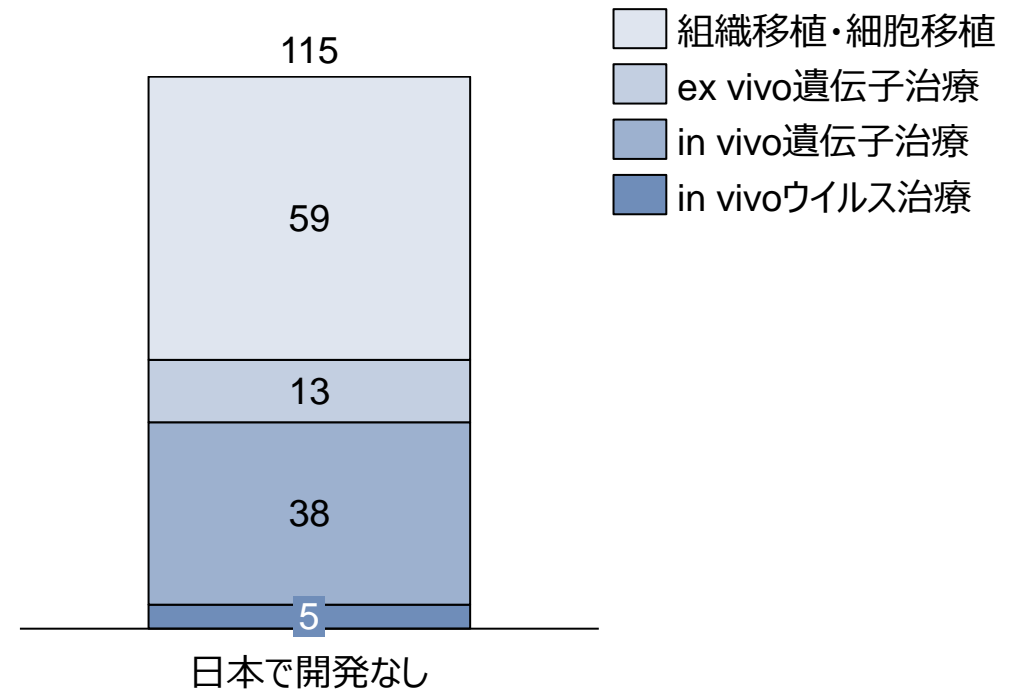
欧米でP3実施中の再生医療等製品の日本国内での開発状況

2023年3月時点

パイプライン数



日本での開発が現状実施されていないパイプライン内訳



*1 Phase1~3のパイプラインまたは上市品が存在、出所：Evaluate Pharma

Appendix

再生医療等製品と既存医薬品との違い

再生医療等製品と既存医薬品の違い 詳細

| | | 再生医療等製品 | 低分子医薬品・バイオ医薬品 |
|-----------|-------------|---|--|
| 1 研究開発 | 1-1 規制 | <ul style="list-style-type: none"> ローカルルールで成り立っている 日本の規制（生原基、カルタヘナ）が障壁 | <ul style="list-style-type: none"> ICHにより国際的に調和 |
| | 1-2 特許 | <ul style="list-style-type: none"> 多くの特許の組み合わせ（ライセンス料が増加） | <ul style="list-style-type: none"> 物質特許で保護 |
| | 1-3 人材 | <ul style="list-style-type: none"> 高度技術を持つ人材が少なく、育成していく必要性が高い | <ul style="list-style-type: none"> 豊富 |
| 2 製造 | 2-1 製造 | <ul style="list-style-type: none"> モダリティが多様で専用設備が必要 多くの周辺産業との連携が必要 大量生産できずスケールメリットが得難い | <ul style="list-style-type: none"> 設備を同じモダリティに流用可能 限られた特定の産業（化学・バイオ） 大量生産可能で工業的 |
| | 2-2 品質 | <ul style="list-style-type: none"> 細胞や遺伝子の均質化が困難 | <ul style="list-style-type: none"> 均質化が容易 |
| | 3-1 輸送 | <ul style="list-style-type: none"> 専用の輸送が必要 | <ul style="list-style-type: none"> 通常設備で輸送可能 |
| 4 投与 | 4-1 医療機関 | <ul style="list-style-type: none"> 専門施設に限定 医師の手技に依存する製品もある | <ul style="list-style-type: none"> 広く使用 |
| | 4-2 対象患者 | <ul style="list-style-type: none"> 希少疾患を含め比較的小さい 自家細胞は個別化医療 | <ul style="list-style-type: none"> 生活習慣病を含め比較的大きい |

注：バイオ医薬品などで生じる問題も一部含む

2~4 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、製造後に該当患者に投与する必要がある 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。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、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、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。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、製品ごとに多様な品質保証試験が課される 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"> 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（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 | ✓ | ✓ | |

我が国の再生医療等製品の市場獲得が 遅れている理由

1 再生医療等製品の普及が遅れている理由

- 再生医療等製品の市場浸透は既存医薬品と比較して時間がかかる
- 規制による制限や、医療機関側のインセンティブ不足や新たな体制構築の必要性が背景となっている

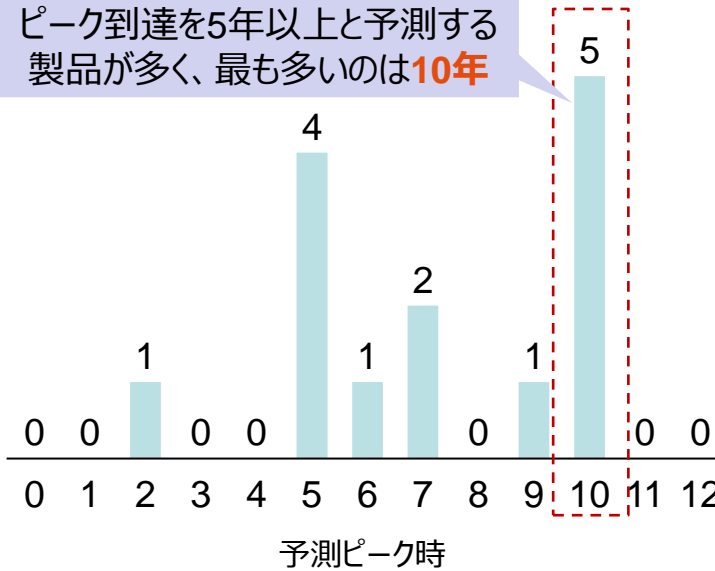
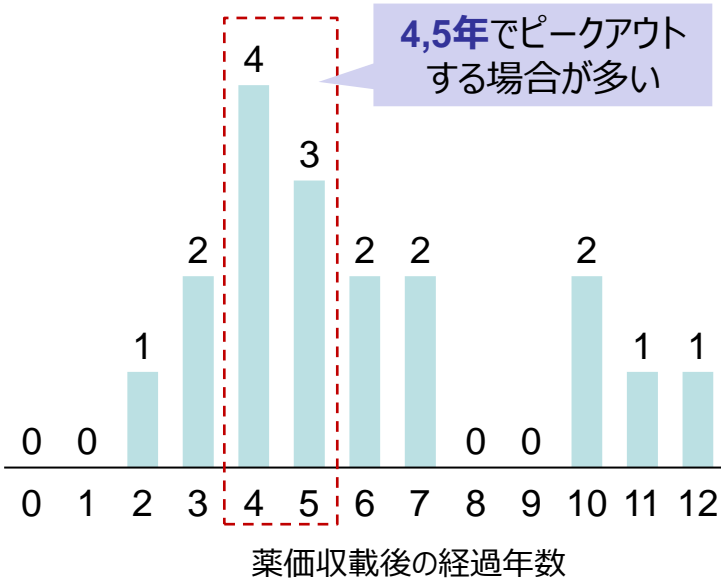
市場浸透にかかる時間の違い

既存医薬品*1

再生医療等製品*2

■ ピークアウト品目数

■ 予測ピーク時



*1 以下の条件を満たす既存医薬品
 ・ 2005~2015年度に日刊薬業データベースに記載されている
 ・ 売上高100億円以上の医薬品
 ・ 全ての年度でデータが存在
 ・ 既にピークアウトしている

*2 本邦で承認された再生医療等製品17品目のうち、予測ピーク時が不明でないものに関して計上

普及に時間がかかる
主な背景要因

1

規制

- 施設要件や使用制限等、**供給に関連するリミテーションが存在する**

2

医療機関

- 供給際して特殊な施設・人・体制を構築する必要がある一方で、**病院側に技術料が認められていない**。結果、供給体制構築にハードル
- 適格患者のスクリーニングに向けた**スクリーニング体制の構築も必要**

4-1 再生医療等製品を持続的に患者に届けるための課題

- 再生医療等製品の制約により、企業が持続的に製品を届けるためのハードルが存在

| カテゴリー | 現状の製品における課題例 | 開発者視点での課題、不利益 |
|--------------------|--|---|
| ① 使用制限 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 重症熱傷の治療において使用枚数の上限が50枚に制限されている | <ul style="list-style-type: none"> ✓ トップラインに制限がある ✓ 上限を超える使用がある場合、費用をメーカーが持つ |
| ① 施設要件 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 施設基準として膝関節手術を年間100症例以上の施設に制限されている | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 製品を供給できる施設が限られてしまう |
| 原料供給 製品提供 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ ボランティアドナーからの細胞ソース原料（新鮮骨髄液）の安定確保、国内供給体制が未構築である ✓ 患者からの自家細胞入手後に、患者が死亡する等により投与ができない | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 海外に生体原料供給を依存している ✓ 費用をメーカーが持つ場合がある |
| ① 条件及び 期限付承認 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 条件及び期限付承認のため計画数量内での販売となる | <ul style="list-style-type: none"> ✓ トップラインに制限がある |
| ② 医療機関の 技術料 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 品質を担保した環境で運用するために必要な部屋・設備・機器・人を維持するための施設加算などの技術料が認められていない ✓ 病院においてウイルス拡散防止策が必要だが、その技術料が認められていない | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 医療機関に費用負担が発生し、供給施設を拡大しにくい |
| 倫理的な 対応要請 | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 規格外品は治験として提供している | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 治験の中で行うため、製品は無償提供となる ✓ メーカーが有効性・安全性データを取る必要がある |
| ② 適応患者の スクリーニング | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 早期発見、早期治療のために、新生児マススクリーニングの拡充が必要である | <ul style="list-style-type: none"> ✓ スクリーニング体制の構築にコスト・時間がかかる |
| ① 最適使用推進 ガイドライン | <ul style="list-style-type: none"> ✓ メーカー側の意見をインプットする機会がなく、結果として承認時から想定外のクライテリアを課されることがある | <ul style="list-style-type: none"> ✓ 添付文書よりも厳しい制限がかかり、使用したい患者へ投与できない場合がある |

2 再生医療等製品の海外価格との比較

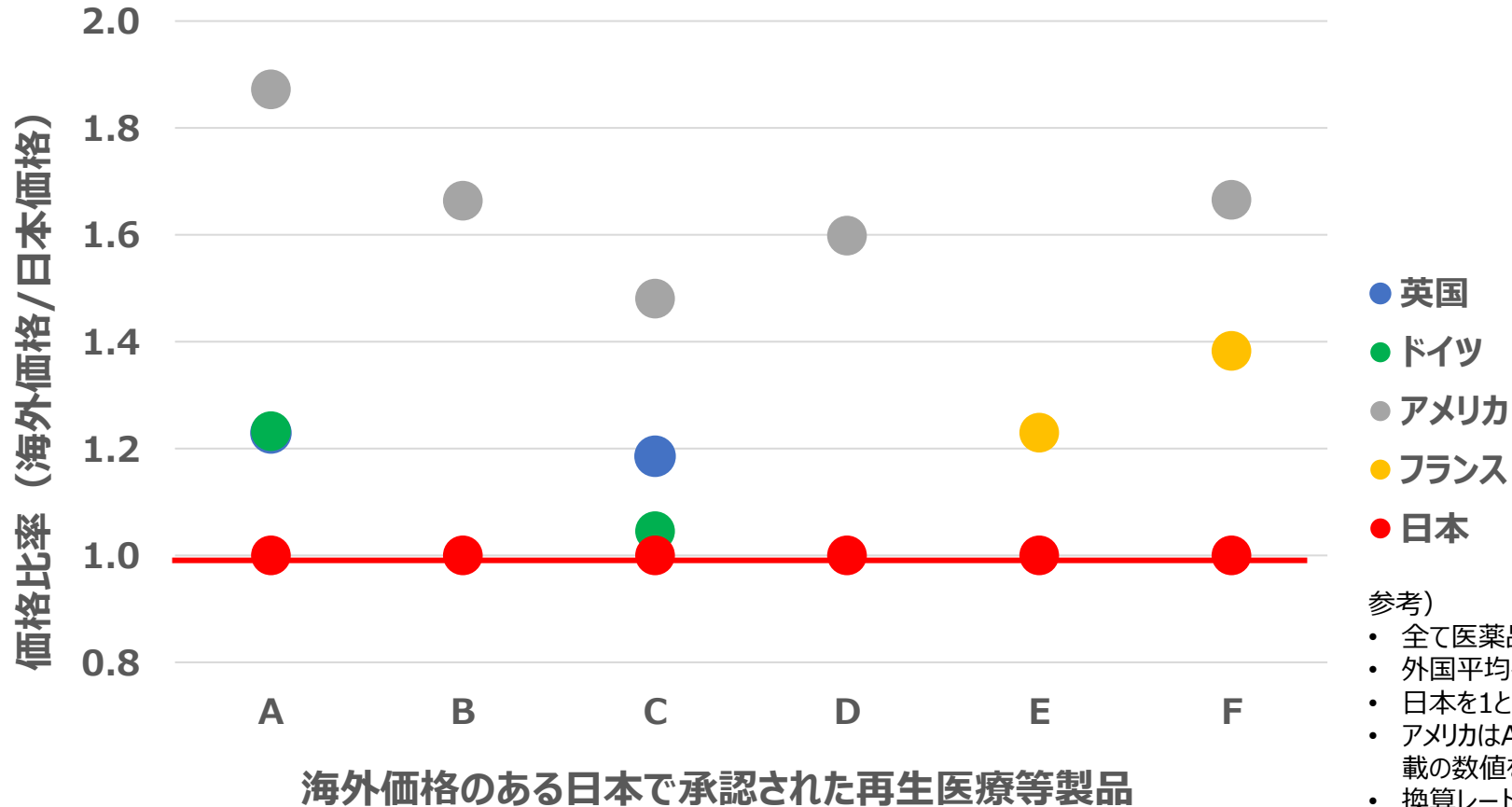
欧米と比較して、日本の価格が
一番低く算定されている



日本で新薬創出の魅力が低下し、
優先度が下がる可能性がある



革新的な再生医療等製品が患
者さんのもとに届きにくくなる



2 再生医療等製品の現行の価格算定方式の課題（全体像）

- 現行の価格算定方式に関して、以下の4つの課題が存在

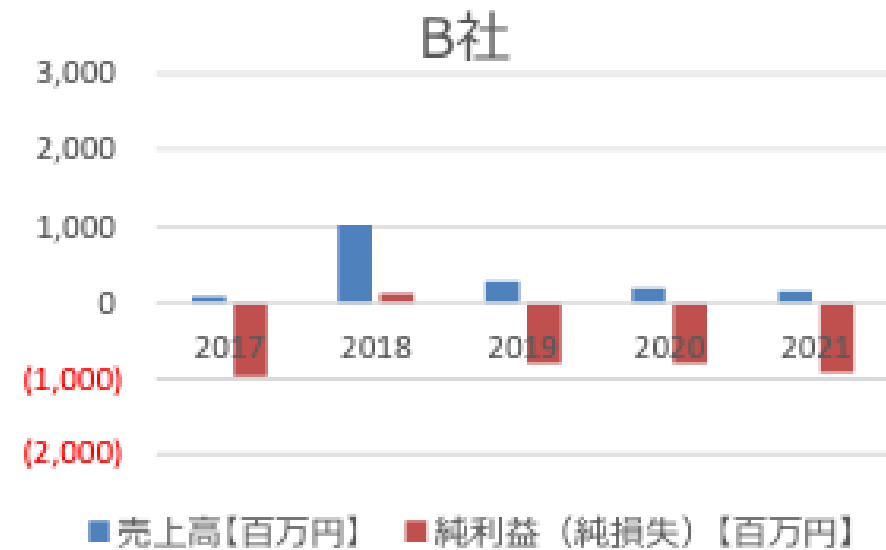
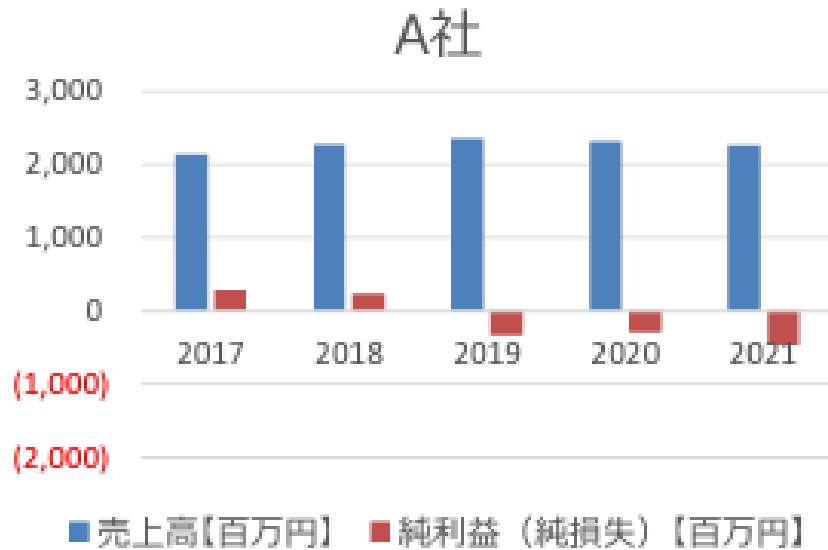
| 現行価格算定方式の課題 | | 課題の概要 | |
|----------------|---|---|--|
| 薬価算定にまつわる課題 | 1 価格算定ルールに関する課題 | <ul style="list-style-type: none"> 現行ルールでは、個別品目ごとに「薬価ルール」か「特定保険医療材料ルール」のどちらかに分けて算定される 一方、再生医療等製品に求められる臨床試験や市販後調査は特定保険医療材料ではなく医薬品に近い | |
| | 算定方式に関する課題 | 2 原価計算方式 | <ul style="list-style-type: none"> 再生医療等製品の特徴に基づいた原価要素を反映できていない |
| | | 3 類似薬効比較方式 | <ul style="list-style-type: none"> 適切な比較対象となる医薬品が無い、選定する仕組みが無い |
| | ②、③共通 | <ul style="list-style-type: none"> 再生医療等製品の特徴に基づいた付加価値を反映できていない | |
| 4 補正加算評価に関する課題 | <ul style="list-style-type: none"> 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く、適切に有用性が薬価に加算されない 既存薬との比較の中で画期性を評価することが困難 | | |

再生医療等製品の価値や特徴、イノベーションが適切に評価されていない

3 市場魅力度の棄損 国内企業の収益状況

- 日本の再生医療等製品を開発する企業は、優れた技術を持つにもかかわらず、国内に限られた市場だけを対象とした結果、十分な収益を得られずに経営状況が悪化することも多い
- 収益性が見通しが立たないと、新たなイノベーションに向けた投資に踏み切ることができないことから、これまでにない新たな市場の開拓とそれを通じた十分な収益の確保に取り組むことが重要

再生医療等製品を開発する企業の財務状況例



市場魅力度の棄損 海外企業の日本への製品展開

- 費用対効果評価や市場拡大再算定などで価格が下がるリスクを常に抱えている
- 前述国内企業の状況に鑑みると、日本市場では製品上市/展開による投資回収にハードルがある

主要な*1再生医療等製品の価格推移（国内）

| | 保険収載時の価格 （円） | 2023年2月現時点 の価格（円） | 変化率 （%） |
|--------|-----------------|----------------------|------------|
| ゾルゲンスマ | 167,077,222 | 167,077,222 | → 0 |
| キムリア | 33,493,407 | 32,647,761 | ↘ -2.5 |
| イエスカルタ | 34,113,655 | 32,647,761 | ↘ -4.3 |

価格引き下げ時の国内の市場環境

| | |
|--------|---|
| キムリア | <ul style="list-style-type: none"> • 需要を満たす供給体制ができる前に価格が引き下げられた <ul style="list-style-type: none"> • キムリアの国内対象者は年間250人程度である一方で、2020年12月時点での製造能は月1件程度 • その後製造能は改善しつつあるとされているが、その後2021年7月に価格が引き下げられた |
| イエスカルタ | <ul style="list-style-type: none"> • 国内市場に出回る前から価格が引き下げられた <ul style="list-style-type: none"> • イエスカルタは約3,400万円の価格で2021年4月に保険収載予定であった • しかし、先んじて保険収載されていたキムリアの費用対効果の計算結果を基に、2021年4月に価格が引き下げられた |

*1 海外の製薬企業が開発し、2020年までに欧米で承認された製品。出典：”近年の高額薬価算定の傾向”Deloitte、慶應義塾大学医学部 血液内科、他

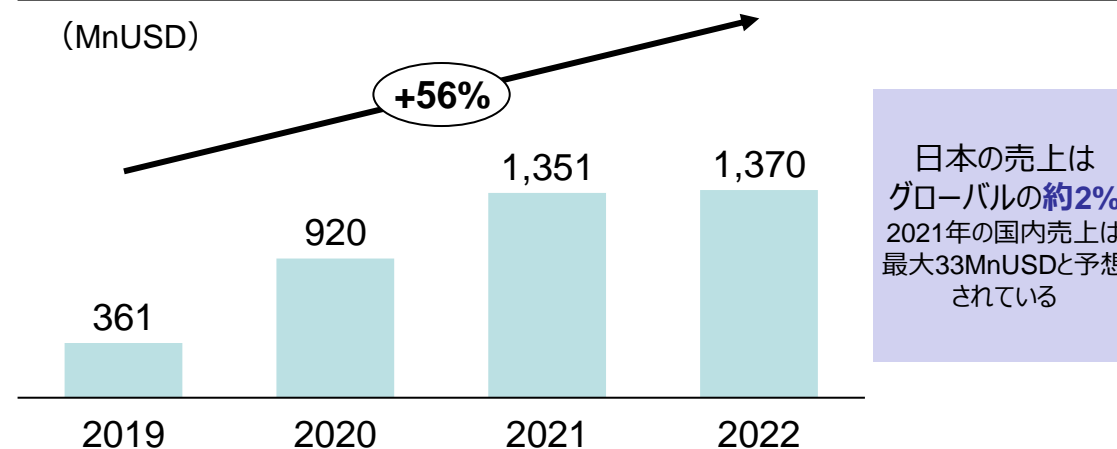
4 欧米における再生医療等製品市場の活性

- 欧米においては再生医療等製品への価格が高く維持されており、順調に売り上げを伸ばしブロックバスター化している

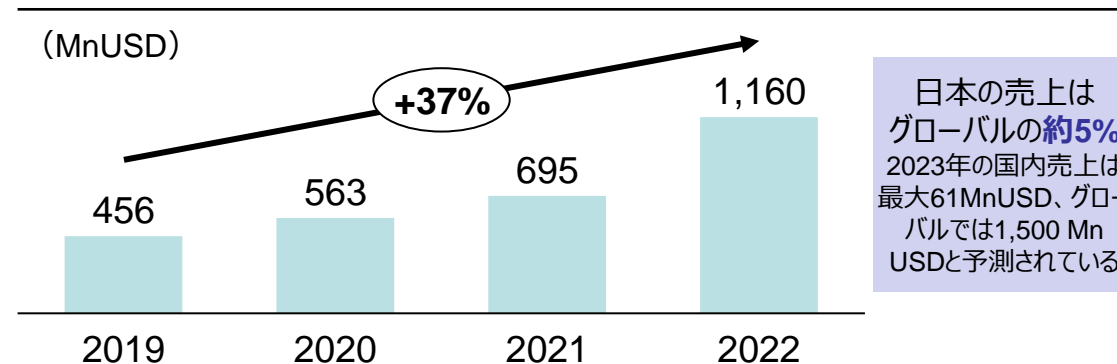
主要な*1再生医療等製品の価格推移（グローバル）

| | | 2023年3月現時点の 価格概算値（百万円） | | | 日本の価格 に対する一番 高い価格の 割合（%） |
|------------------|--------|---------------------------|------|-----|-----------------------------------|
| | | 米国*2 | 英国*3 | 日本 | |
| In vivo 遺伝子治療 | ゾルゲンスマ | 273 | 287 | 167 | 171 |
| | イエスカルタ | 48 | 45 | 32 | 150 |
| Ex vivo 遺伝子治療 | キムリア | 62 | 45 | 32 | 193 |
| | アベクマ | 63 | 不明 | 32 | 151 |
| | ブレヤンジ | 61 | 不明 | 32 | 152 |

ゾルゲンスマの売上（グローバル）



イエスカルタの売上（グローバル）



*1米国と日本で上市済みの再生医療等製品のうち、2022年のグローバルの売上トップ5、*2 1ドル130円として計算、*3 1ポンド160円として計算。出典： Drugs.com、Evaluate Pharma、他

欧米メガベンチャーの収益化状況

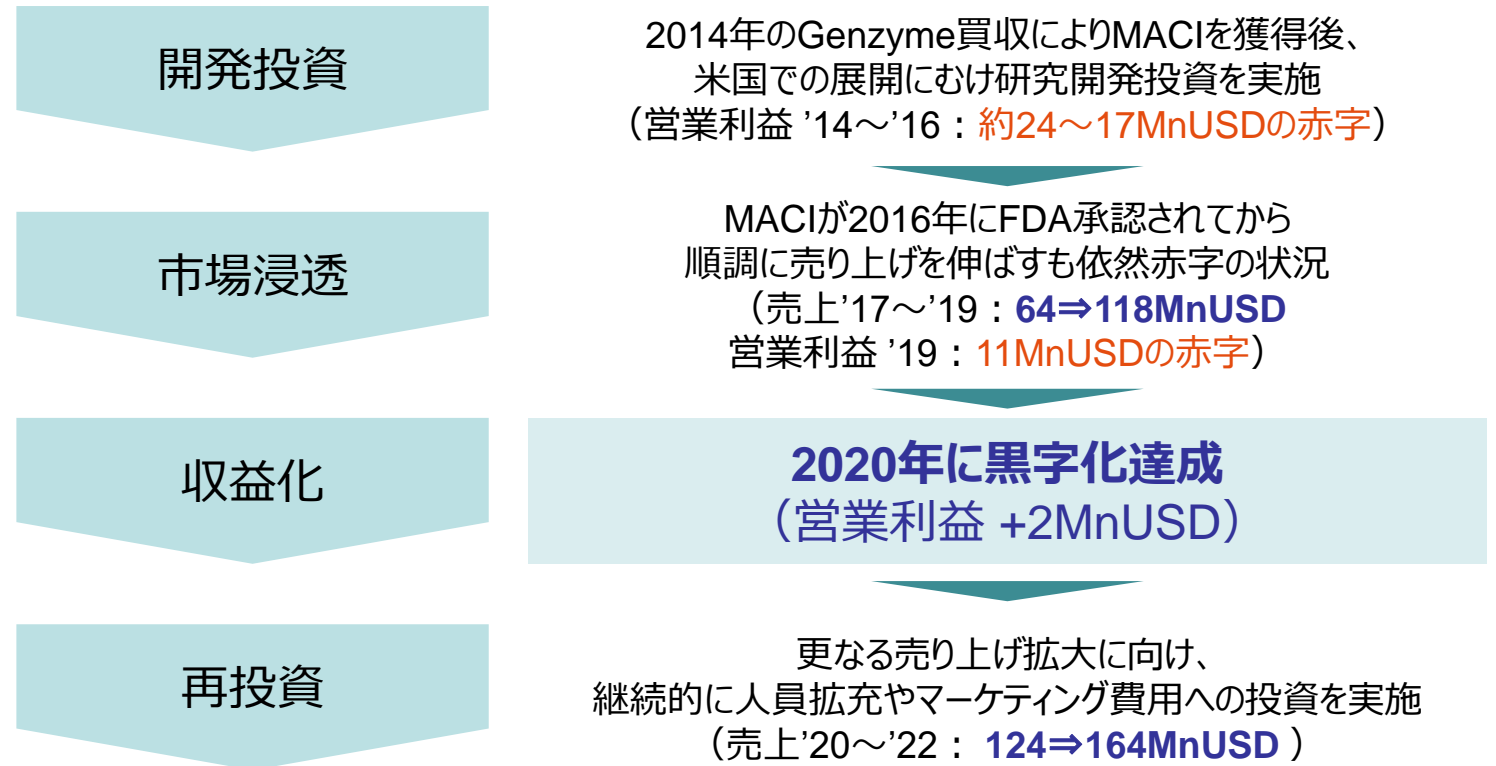
- 欧米では大手製薬企業のみならず、メガベンチャーでも再生医療等製品における事業黒字化を達成。現在はさらなる成長に向けた再投資を実施。

Vericel社概要

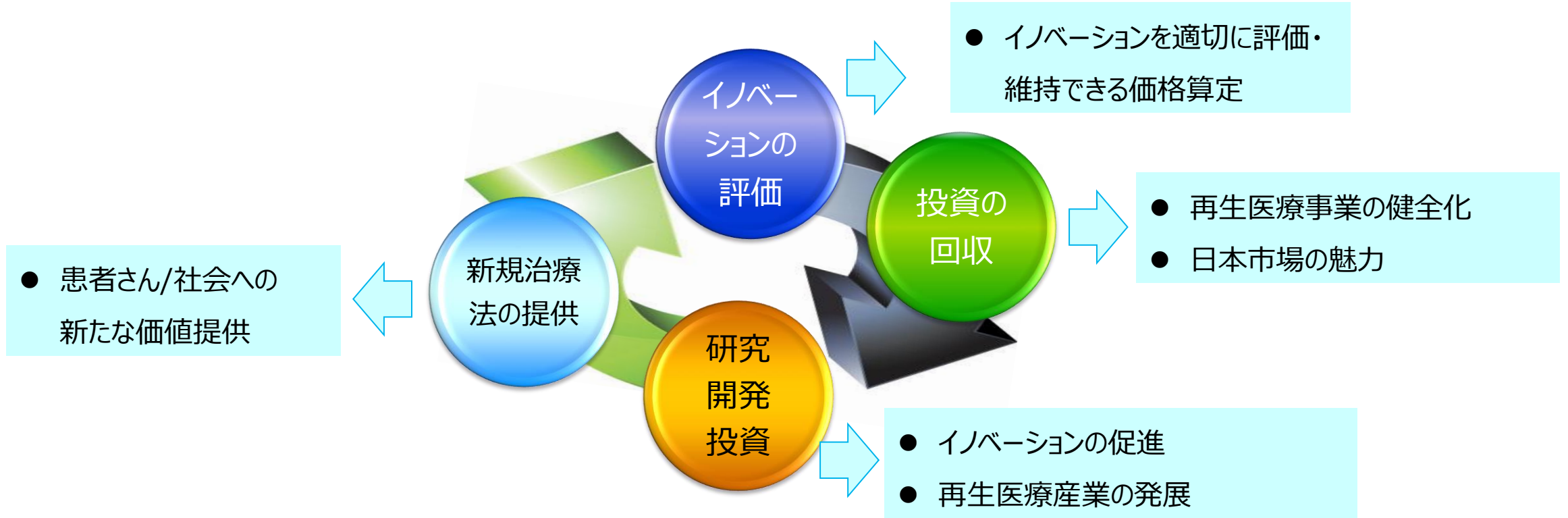
- Vericel社は細胞治療分野のメガベンチャー
- 現在保有する製品は以下の3つ

| | | |
|---------|---------|--|
| 再生医療等製品 | MACI | <ul style="list-style-type: none"> MACIは豚コラーゲン膜上の自家培養軟骨細胞の略 膝軟骨の損傷に対する治療薬 米国では2016年よりCarticelの代替薬として使用されている |
| | Epicel | <ul style="list-style-type: none"> Epicelは培養表皮自家移植片 全身表面積30%以上の火傷のある患者に対して使用 |
| その他 | NexBrid | <ul style="list-style-type: none"> NexBridタンパク質分解酵素 火傷治療において治療が困難な組織を除去する目的で使用 |

Vericel社の事業・業績の推移



再生医療等製品の研究開発サイクル



イノベティブな治療を患者さんに届け、社会に新たな価値を継続的に提供するためには、このサイクルを回し続ける必要がある

国民に提供しうる再生医療等製品の価値と 再生医療等製品の算定方式のあるべき姿

国民に提供しうる再生医療等製品の価値

- 再生医療等製品の持つ臨床的価値は、患者・介護者の心理的価値向上につながるのみならず、労働生産性向上や医療費削減等の社会的価値や、産業的価値につながる

再生・細胞治療

遺伝子治療

臨床的価値

根本原因の改善
(= 根治) が可能に

一度の治療で
効果が長期間持続

革新的なアプローチで治療法の
無い疾患も治療が可能に

社会的価値

心理的価値

- 疾患に対する不安や制限からの解放 (例: 血友病の補充療法からの解放)
- 患者QOLの改善...等

経済的価値

- 患者の社会復帰による労働生産性の向上 (例: 脊髄損傷で寝たきり状態からの復帰)
- 治療・介護に必要なリソースの削減、医療費削減...等

産業的価値

- 成長産業における強み形成
- 他の創薬への展開
- 周辺産業の発展...等

再生医療等製品の算定方式の現状とあるべき姿

- 再生医療等製品の価値や特徴、多様なイノベーションを評価できる新算定方式を導入するべきである

再生医療等製品の特性を踏まえた 現行算定方式の課題

特定保険医療材料・薬価
に分けて算定される

再生医療等製品のコストが
価格に反映できていない

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

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

課題への対応

現行制度のファインチューニングでも一定の対応は可能

医療費や社会的価値に基づいた
価格算定

FIRM案 1

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

FIRM案 2

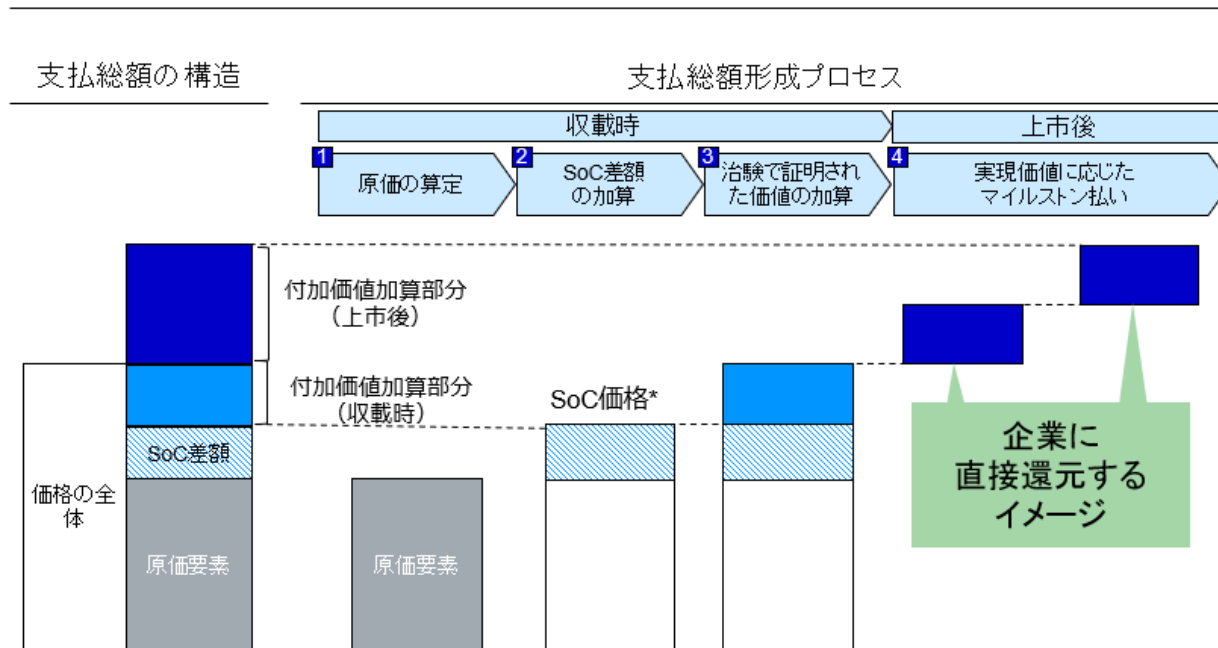
あるべき姿

※再生医療等製品の価格算定方式については、知見が蓄積した後、独自の体系を作るかを中医協で検討するとされている（2014.11.5 中医協総会 2-1）

FIRM 案2 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

- ◆ 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