

2023年7月11日（火）
記者会見資料

再生・細胞医療・遺伝子治療を取り巻く現状と 産業化に向けたFIRMの取り組み

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム
(Forum for Innovative Regenerative Medicine : FIRM)

代表理事会長 志鷹 義嗣

Agenda

1. はじめに

2. 出口戦略としての薬価・規制制度

3. スタートアップ支援の強化

4. FIRM活動の強化

5. ステークホルダーとの連携強化

FIRM役員体制

代表理事会長	志鷹 義嗣 (アステラス製薬株式会社)			
代表理事副会長	畠 賢一郎 (株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング)			
理事副会長	廣瀬 徹 (ノバルティス ファーマ株式会社)、西内 重治 (株式会社日立製作所)			
理事	安武 幹智 (旭化成株式会社)	佐野 睦 (タカラバイオ株式会社)		
	小見 和也 (株式会社エスアールエル)	岩下 圭二 (武田薬品工業株式会社)		
	藏彗 敏之 (協和キリン株式会社)	中野 貴之*	(帝人株式会社)	
	佐藤 裕史 (JCRファーマ株式会社)	千秋 和久 (テルモ株式会社)		
	木村 徹 (住友ファーマ株式会社)	高橋 治 (PHC株式会社)		
	橋本 せつ子 (株式会社セルシード)	山口 豊 (富士フイルム株式会社)		
	高橋 亘* (第一三共株式会社)	近藤 隆重 (株式会社メディネット)		
	杉本 登志樹 (大日本印刷株式会社)	(社名の50音順)		
監事	矢崎 弘直 (EY新日本有限責任監査法人)			
	鮫島 正 (セルステック)			

*新任 2023年6月改選時

FIRM VISION 2025

革新的な治療の普及のために 再生医療の産業化を実現する

FIRMは
信頼ある情報を発信し、
変革につながる
提言をします

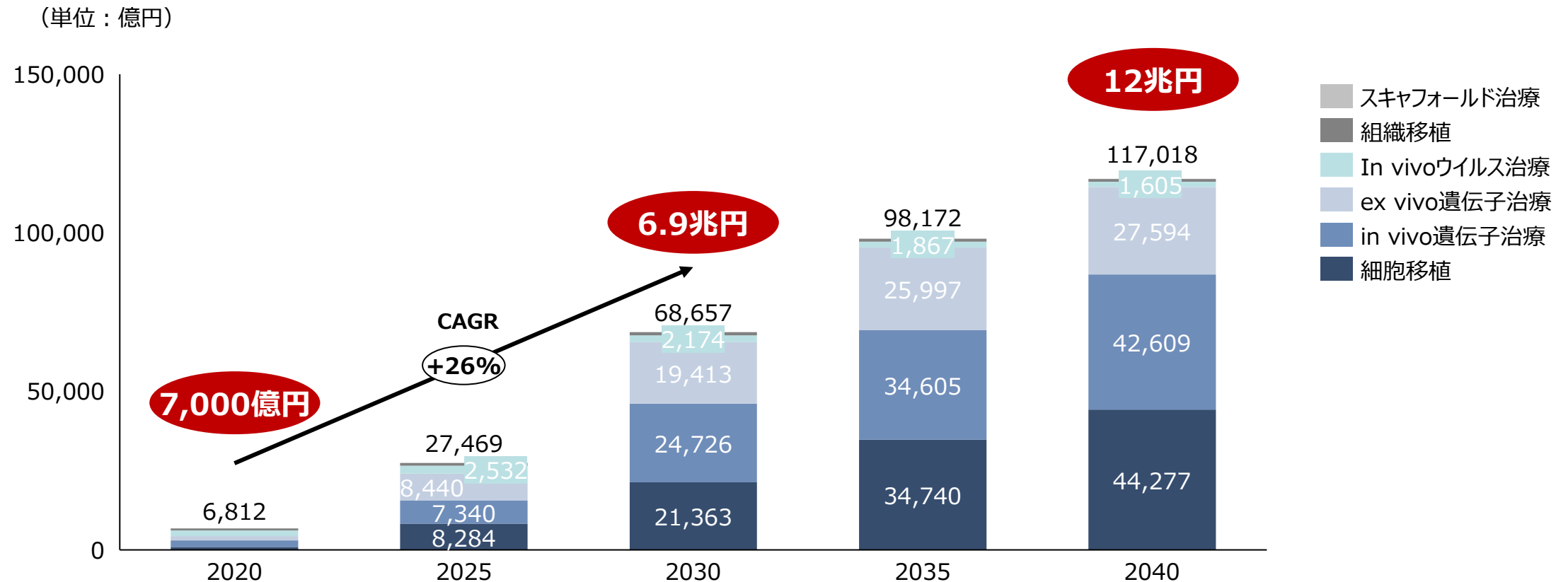
FIRMは
専門性の高い
精鋭集団となって
世界をリードします

FIRMは
イノベーションの
創出に向けて
チャレンジし続けます

再生医療等製品の市場規模（グローバル）

- 今後20年で10兆円を超える規模まで成長する成長産業である

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

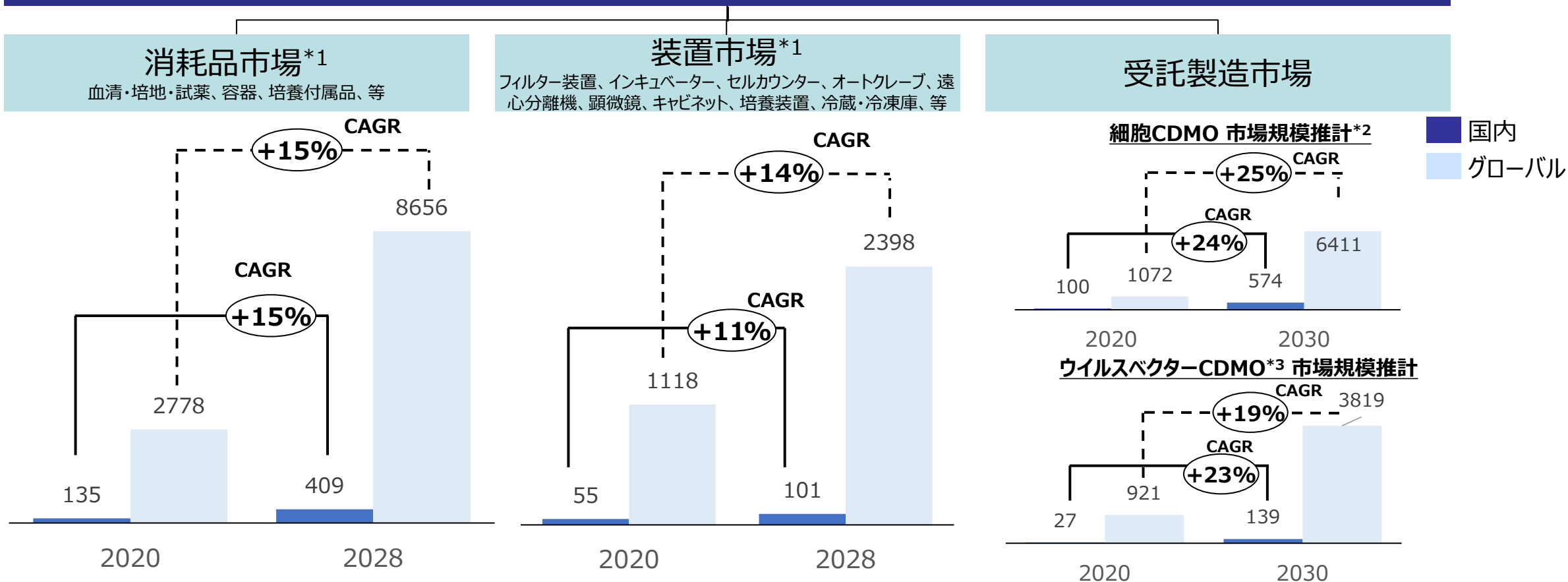
モダリティ		各モダリティの市場動向比較（グローバル）			
		市場規模*2（2020）	市場規模*2（2030）	成長率（20-30）	製品例
再生医療	スキャフォールド治療*1	4億円	29億円	21%	Orthocell（欧州）
	組織移植	600億円	1000億円	4%	ハートシート、ジャック、ジェイス
細胞治療	細胞移植	900億円	2.1兆円	37%	テムセル、ステミラック注
	ex vivo遺伝子治療	1,400億円	1.9兆円	30%	キムリア
遺伝子治療	in vivo遺伝子治療	2,100億円	2.5兆円	28%	ゾルゲンスマ
	in vivoウイルス治療	1,800億円	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（グローバル・国内）

- 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
- 国内市場はグローバルの10分の1程度ではあるが、同様に主要な周辺産業の市場が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（推計値、単位：億円）



出所：MarketsandMarkets “Cell Culture Market Global Forecast to 2028”、ADLデータベースより推計

*1 レポートより引用。*2 グローバル市場はADLデータベースより算出した細胞・組織移植、ex vivo遺伝子治療のエンド市場の市場規模をもとに概算。2022年の国内市場は現プレイヤーの売上高よりADL概算。2030年の国内市場はパイプライン数比率によりグローバル市場から概算。*3 グローバル市場は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。国内市場はグローバル市場をもとに有識者インタビューを踏まえて概算。

Agenda

1. はじめに
- 2. 出口戦略としての薬価・規制制度**
3. スタートアップ支援の強化
4. FIRM活動の強化
5. ステークホルダーとの連携強化

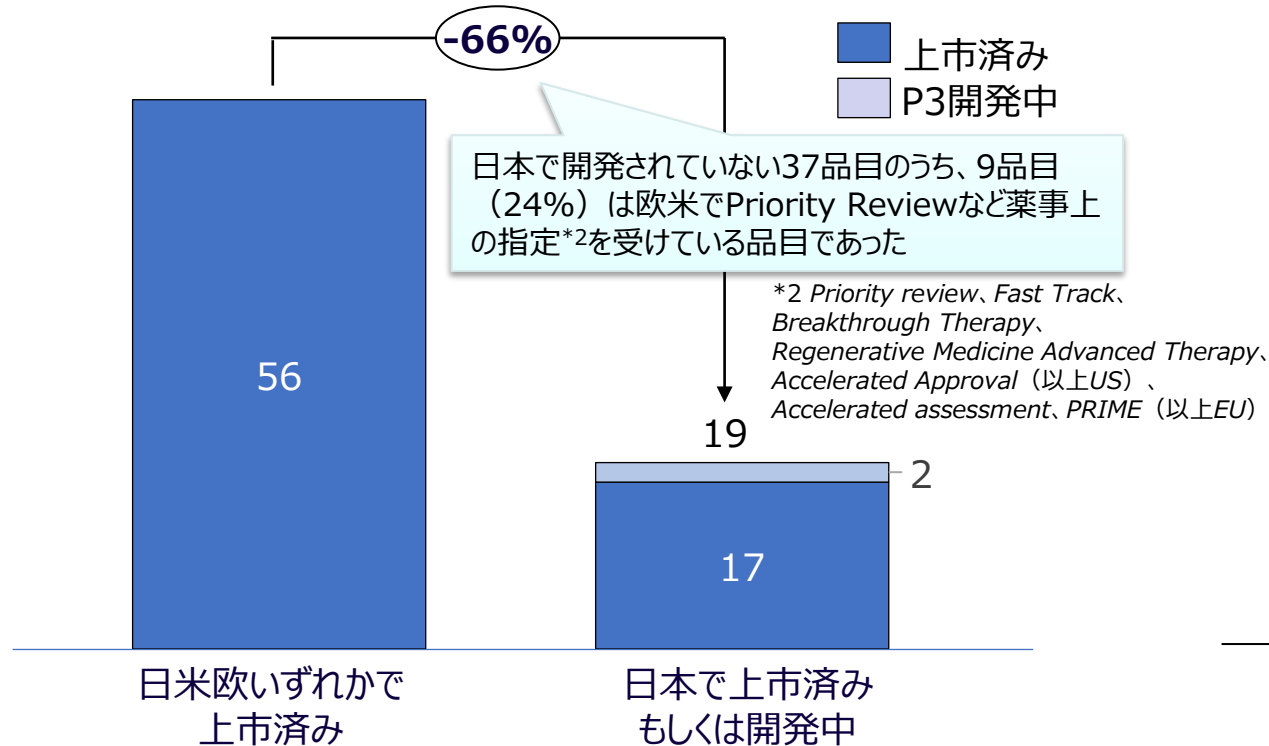
日米欧での再生医療等製品の上市・開発状況

- 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

2023年2月時点

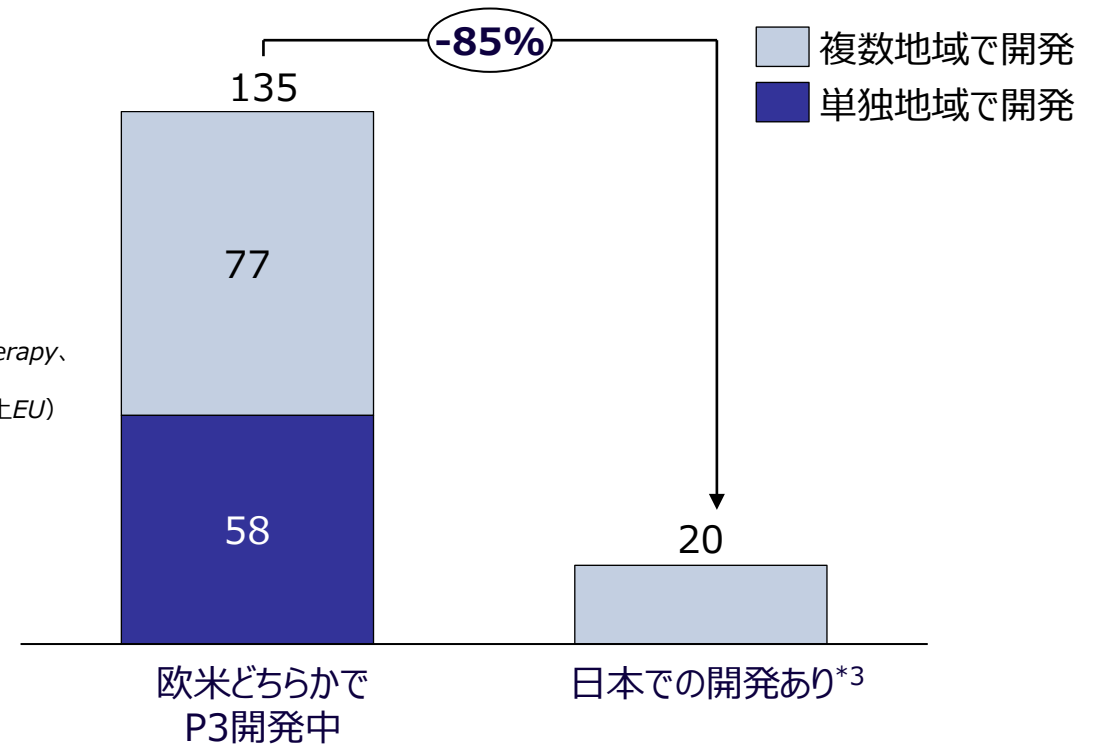
製品数



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

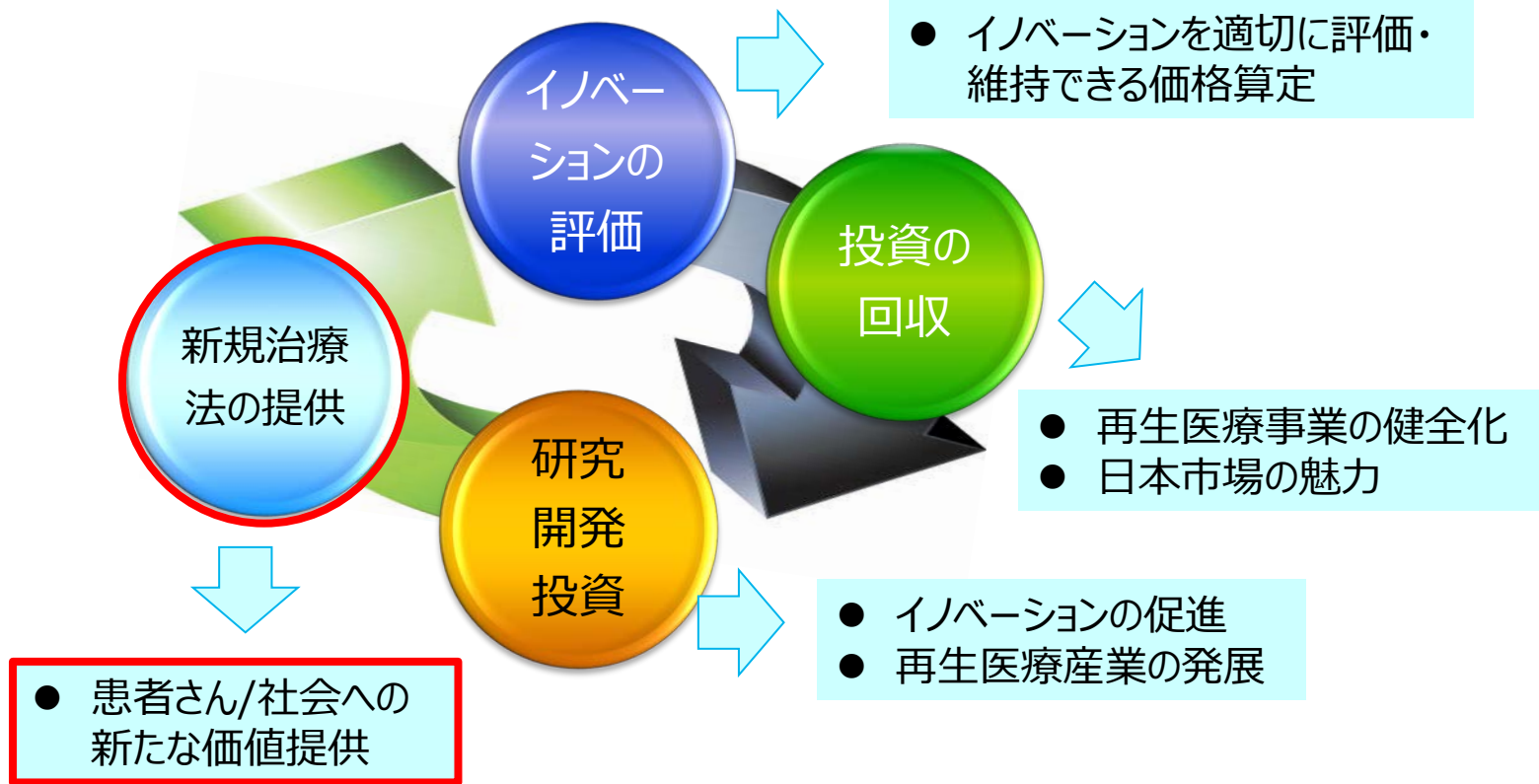
2023年3月時点

パイプライン数

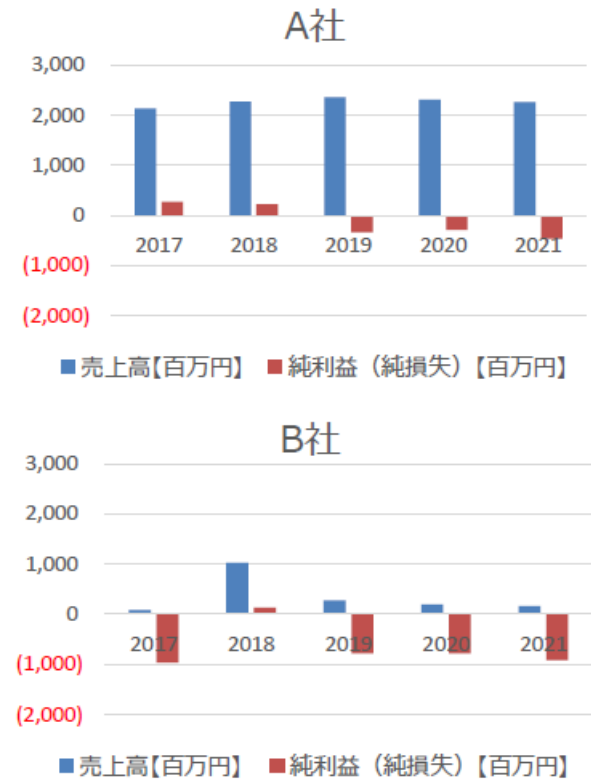


再生医療等製品独自制度の必要性について

- イノベ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。

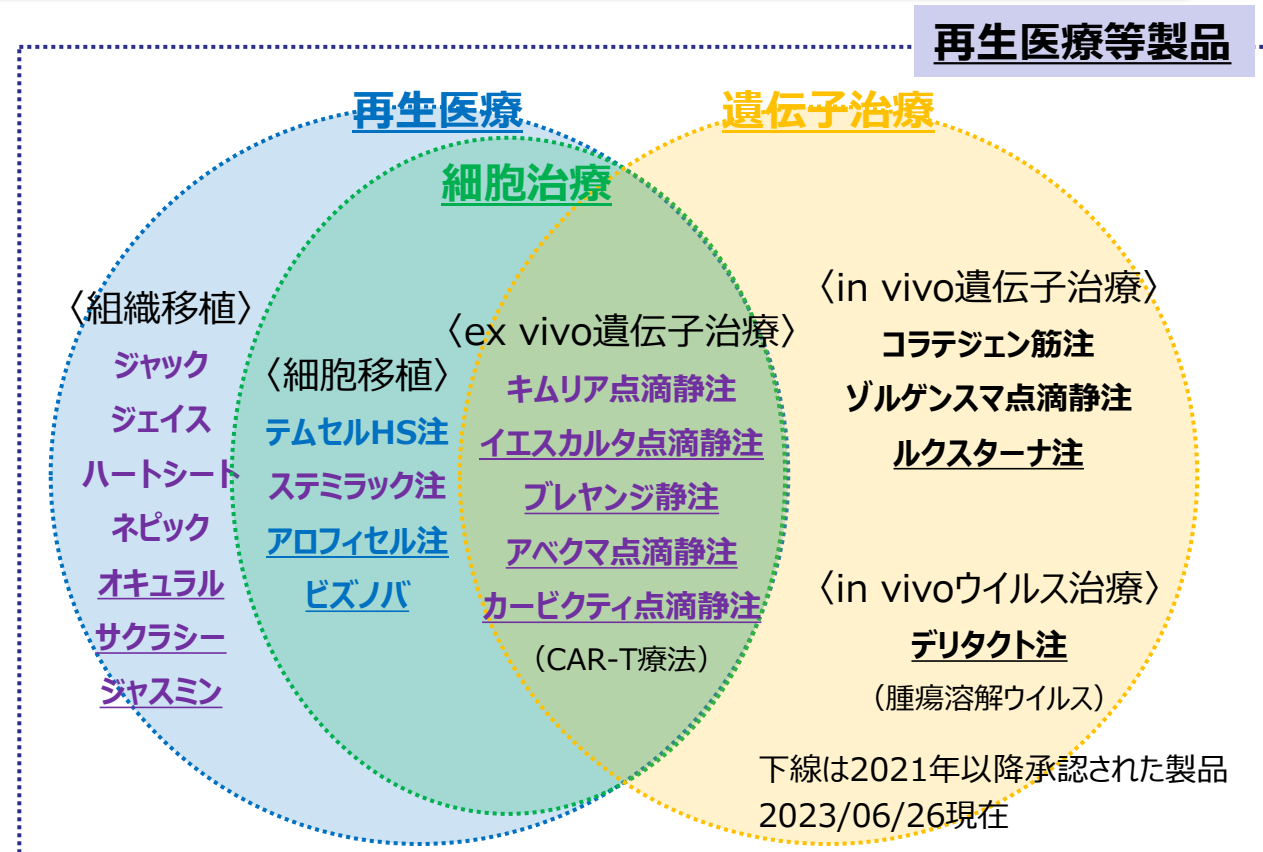
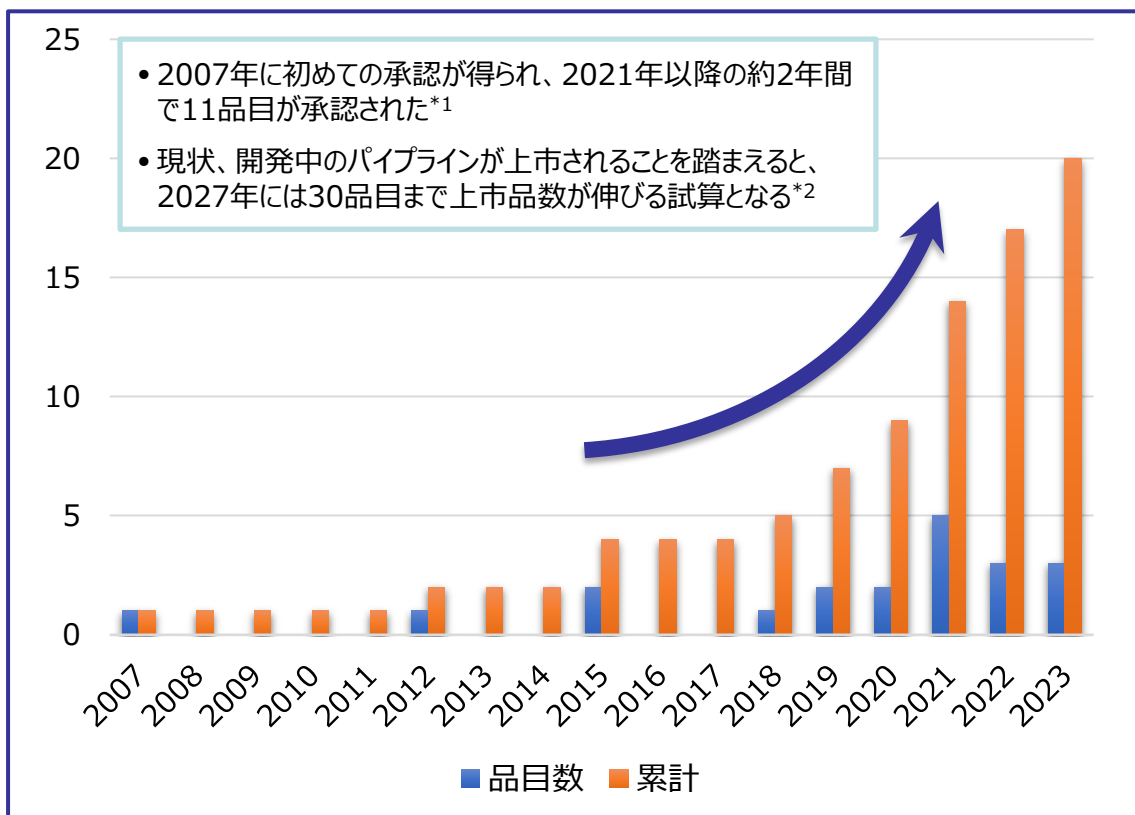


再生医療等製品を開発する企業の財務状況例



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

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
<p>再生医療等製品の「特長」 多様なモダリティで構成される</p> <p>価値に反映すべき「特長」</p>	<ul style="list-style-type: none"> ■ 疾患を根治できる（臨床的・直接的） ■ 介護から解放（臨床的・間接的） ■ 難病患者が疾患から解放（倫理的） ■ 生産性損失が軽減され保険料収入や税収も増加（経済的） ■ 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（産業的） 	<p>医療費や社会的価値に基づいた価格算定</p> <p>提言</p>
<p>多様な価値を不確実化させる「特徴」</p>	<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 	<p>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</p> <p>提言</p>
<p>価値に反映できない「特徴」</p>	<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 	<p>✓原価計算方式への適切な反映</p> <p>独自制度導入までの暫定的・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すべき</p> <p>✓各種規制の緩和 ✓診療報酬の改定</p> <p>関係省庁・学会との議論中</p>

価格以外の課題

価値に
反映すべき
「特長」

多様な価値を
不確実化
させる「特徴」



国民に提供しう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

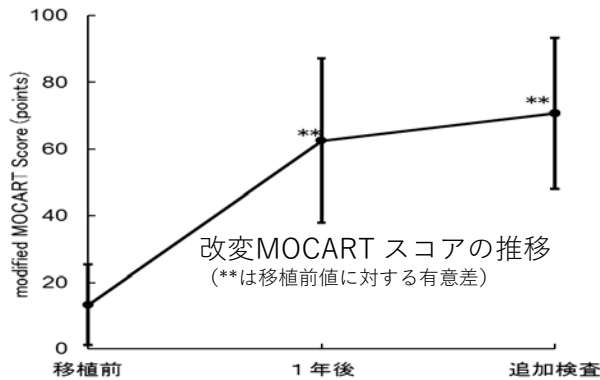
- 有効な治療法が無い患者さんに、新たな治療法の提供
 - ✓ 希少疾病、がん治療
- 少ない投与回数で有効性を示し、患者さんの負担軽減
 - ✓ 脊髄性筋萎縮症

組織移植



上市時は
不確実

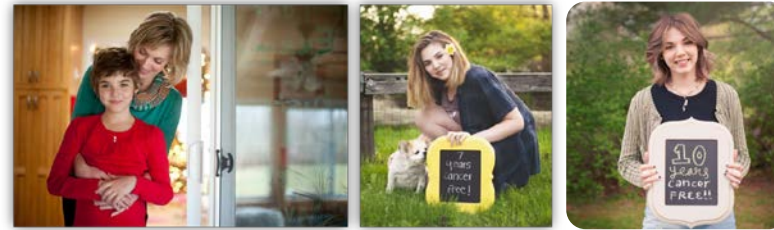
自家培養軟骨の長期臨床成績



ex vivo遺伝子治療

The New York Times

In Girl's Last Hope, Altered Immune Cells Beat Leukemia
少女の最後の希望、免疫細胞の変化が白血病に勝つ



バルティス ファーマ株式会社提供

出典：Emily Whitehead Foundation

白血病は既存治療法
では治療が困難...

遺伝子治療での
治療後10年経っても
再発無し

上市時は
不確実

in vivo遺伝子治療

ゾルゲンスマ投与による
幼児SMA患者の回復状況

上市時は
不確実



幼児型発症の場合、歩くことはおろか平均死亡年齢が6~9か月にもかかわらず、歩行器を使用した歩行が可能に



主な症状に嚥下困難があるが、自分でアイスを持って食べることができるように

出典：Novartis Zolgensma公式サイト

※上市時の不確実性に対応策として、FIRMでは2つの案（初期価格重視案と段階的還元案）を検討中（参考資料43, 44ページ参照）

既存医薬品と再生医療等製品の違い（特徴の全体像）

価値に反映できない「特徴」

		赤字：価値に反映できない特徴	再生医療等製品	低分子医薬品・バイオ医薬品
原材料・資材 原料、培地・試薬、培地容器	研究開発	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
		特許／起源	<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） アカデミアやベンチャー起源の製品が多い 	<ul style="list-style-type: none"> 物質特許で保護 アカデミアやベンチャー起源の製品が再生医療等製品より少ない
機械・装置 細胞培養加工施設（CPC）、製造機器	製造	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
		医療機関	<ul style="list-style-type: none"> 製造の起点として細胞の採材が必要 	<ul style="list-style-type: none"> 製造にあたり採材は必要としない
検査関連産業 検査機器、検査試薬	流通	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
		品質	<ul style="list-style-type: none"> 細胞や遺伝子の均質化が困難 総製造量に対して検査用製造の占める割合が高い 	<ul style="list-style-type: none"> 均質化が容易 再生医療等製品よりも総製造量に対して検査用製造の占める割合が低い
製造関連 CDMO、CMO	投与	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
		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
物流・サービス 保管、輸送		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

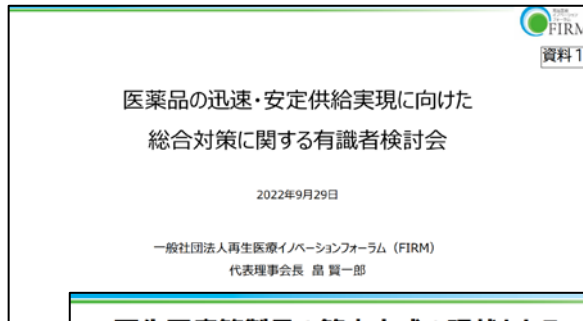
新たな算定方式の導入に向けた提言

価値に
反映すべき
「特長」

多様な価値を
不確実化
させる「特徴」



- 厚労省 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会（2022年9月29日）での意見陳述をすると共に、策定した提言を用い国会議員、厚生労働省関係者に新算定方式導入の必要性を訴求



再生医療等製品の算定方式の現状とあるべき姿

再生医療等製品の算定方式、価格の現状

- 医薬品、医療機器の例に分けられて算定されている
- 多様なコスト構造・価値を適切に評価できていない
- 欧米の価格と比較して日本の価格は低い

再生医療等製品の算定方式のあるべき姿

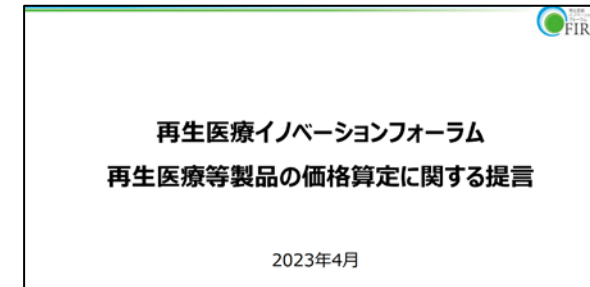
- 医療費や社会的価値に基づいた価格算定
- 既存治療に対する付加価値を上市後も反映できる仕組み

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協協で検討するとされている（2014.11.5 中協協総会 2-1）



有識者検討会 報告書にFIRMの意見が一部反映



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こ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、産業発展のための再輪の一つである「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持続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じ、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



自民党創薬PTや再生医療推進議連の提言にFIRMの意見が盛り込まれ、骨太の方針にも記載

- 有識者検討会 報告書、経済財政運営と改革の基本方針（骨太の方針）2023に、以下の記載が盛り込まれた

医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 報告書（該当箇所抜粋）

2.2 創薬力の強化、ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの解消

2.2.3 薬価基準制度における対応（新規収載時薬価）

- 再生医療等製品といった新規モダリティや、比較薬がないような革新的な医薬品については、原価計算方式による透明性の確保が難しくなっていることや、薬事承認に係るデータだけでは価格に関して十分に評価できないことから、既存の枠組にとらわれず、新たな評価方法を検討すべきである。

経済財政運営と改革の基本方針2023（該当箇所抜粋）

2. 持続可能な社会保障制度の構築（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、（中略）等を推進する。



再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた新算定方式の検討に向け、今後もステークホルダーに働きかけていく

再生医療等製品を持続的に患者に届けるための課題 価格以外への対応

価値に
反映できない
「特徴」



- 再生医療等製品特有の制約に関し、課題解決に向けて関係省庁・関連学会との議論を開始

カテゴリー	現状の製品における課題例	この一年間のFIRMの活動
使用制限	✓ 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	✓ 行政等への紹介（個別案件対応にむけた仕組みの提案）
施設要件	✓ 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	✓ 行政等への紹介（個別案件対応に向けた仕組みの提案）
原料供給 製品提供	✓ ボランティアドナーからの細胞原料（新鮮骨髄液）の安定供給確保、国内需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	✓ AMED事業の検討班に参画し、品質確保についても併せて検討中 ✓ 自家細胞製品の課題として行政に説明
条件及び 期限付承認	✓ 条件及び期限付承認のため計画数量内での販売となる	✓ 厚生労働省医療機器審査管理課、PMDA等と議論中
医療機関の 技術料	✓ 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体制加算など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	✓ 2024年度診療報酬改定に向けて、日本再生医療学会等の関連学会と連携中
倫理的な 対応要請	✓ 規格外品は治験として提供している	✓ 医療機器審査管理課へ紹介→本件に関わる検討班が立ち上がり、再生医療学会と共に参画し対応策を検討
適応患者の スクリーニング	✓ 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	✓ 今後対応を検討予定
最適使用推進 ガイドライン	✓ 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	✓ 今後、他業界団体も含めて対応を検討予定

まとめ：出口戦略における今後の取組み

<価格制度>

- 再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた独自の制度の構築に向け、産学官による検討の場の設置を求める。また、FIRM内の検討を継続し、産官学の議論へ積極的に参画する。
- 独自制度導入までの暫定的・緊急的な対応策として、令和6年度制度改革では再生医療等製品の特徴を現行算定方式に反映するよう求める。

<規制制度及びその他の支援>

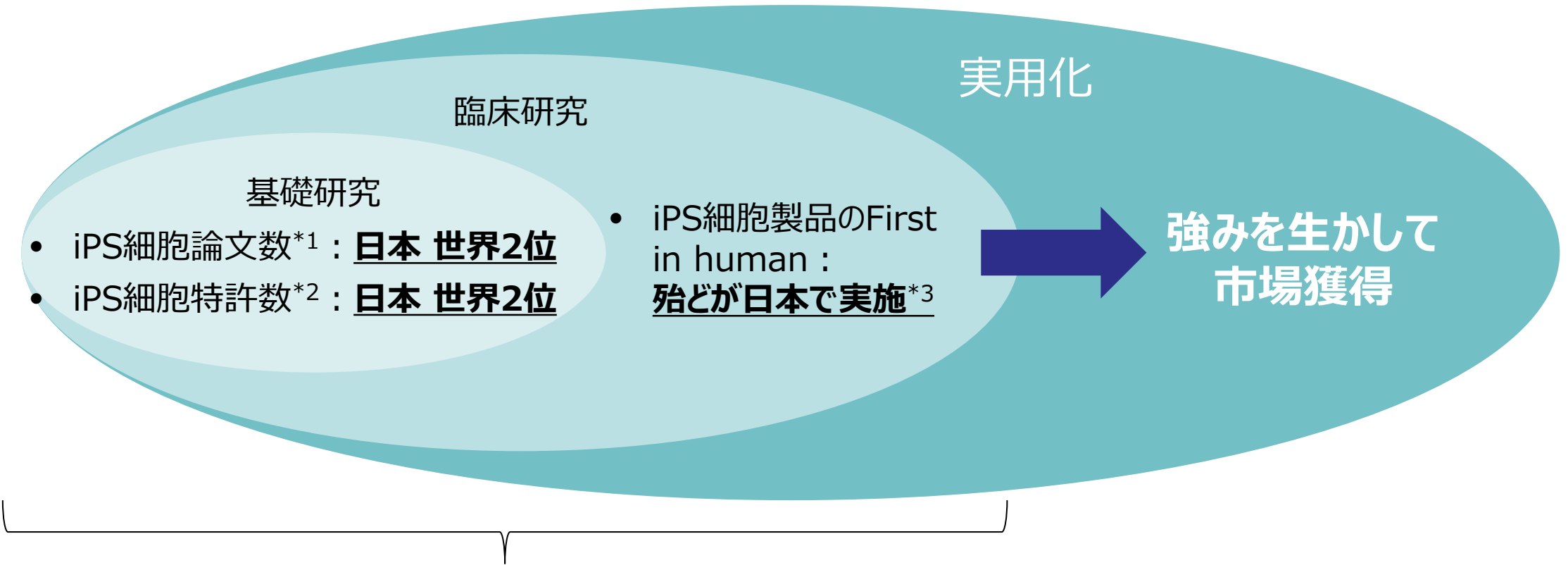
- 再生医療等製品特有の課題を整理し、引き続き関連団体とも連携の上で課題解決に向け厚生労働省、PMDA、経済産業省、文部科学省等の関係省庁との意見交換を継続する。

Agenda

1. はじめに
2. 出口戦略としての薬価・規制制度
- 3. スタートアップ支援の強化**
4. FIRM活動の強化
5. ステークホルダーとの連携強化

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

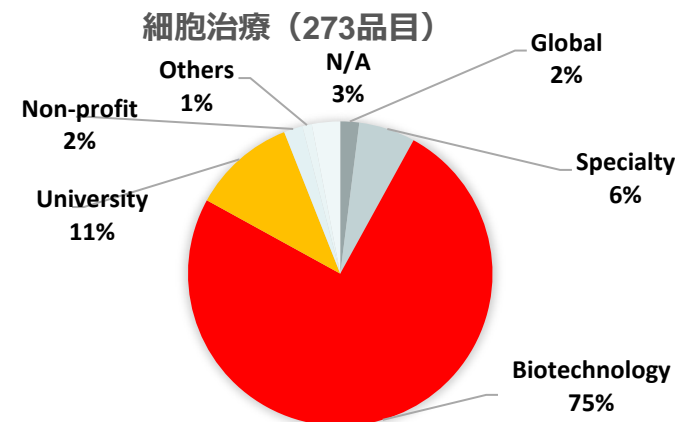
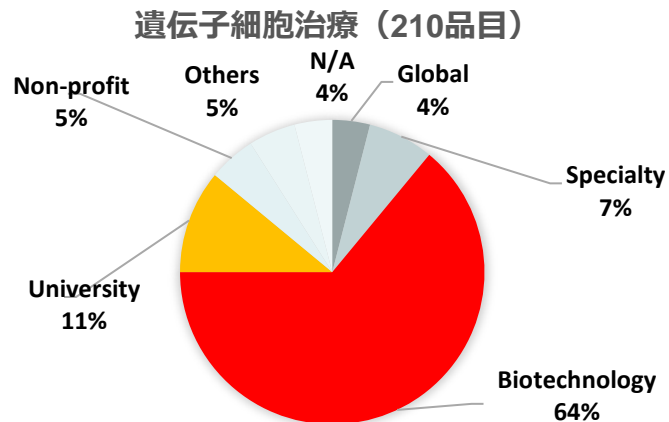
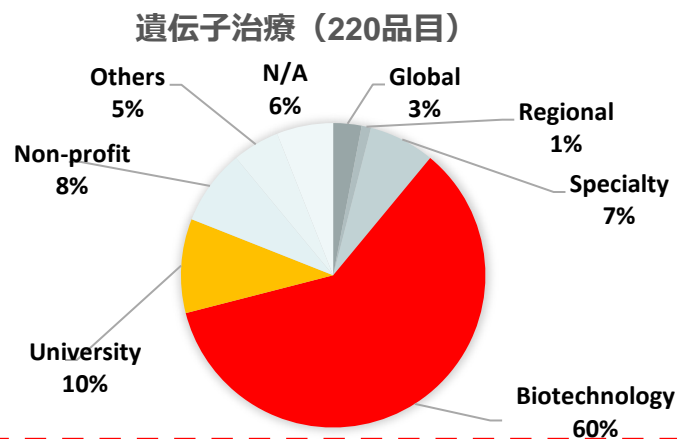
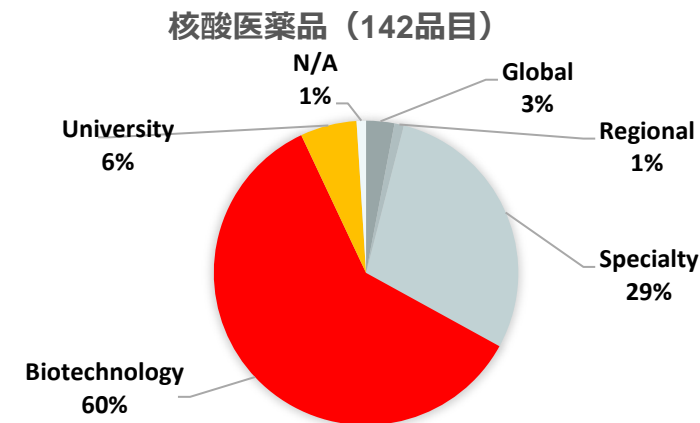
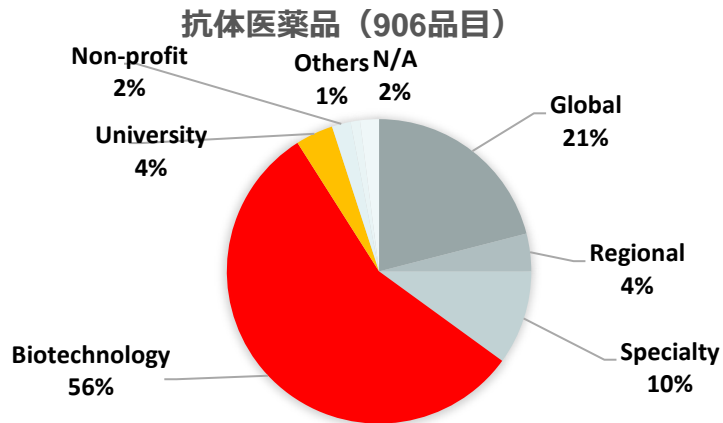
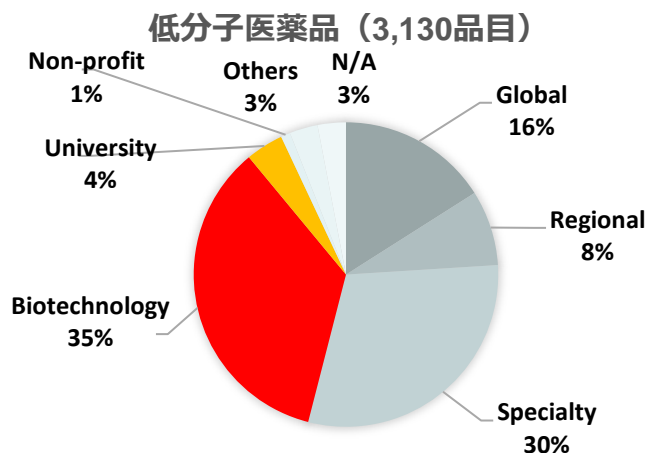
*1,*2 出典：2021.3.5第1回再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会資料3（*1：幹細胞研究の高IFの論文数をカウント、*2：PCTに基づく特許出願をカウント）

*3 出典：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：%)



スタートアップ支援のトレンド

最近の創薬スタートアップへの資金支援策

大学発スタートアップ創出の抜本的強化 文科省

創薬ベンチャーエコシステム強化事業 経産省

経済財政運営と改革の基本方針2023 (該当箇所抜粋)

2-2-(3) スタートアップの推進と新たな産業構造への転換、インパクト投資の促進 (スタートアップの推進と新たな産業構造への転換)

具体的には、「**スタートアップ育成5か年計画**」に基づき、過去最大規模の1兆円のスタートアップ育成に向けた予算措置を活用して**各分野の実態等にも応じた支援⁵²を行いつつ**、スタートアップ創出に向けた人材・ネットワークの構築を進めるため、従業員に対して付与するストックオプションについて予め発行枠を設定し、柔軟に付与できる仕組みの整備を含め、ストックオプションの活用に向けた環境整備を進めるとともに、メンターによる支援の拡大、国内外における起業家育成の拠点の整備や人材交流、各地域の大学・高専等でのスタートアップ創出、起業家教育、海外起業家・投資家の誘致拡大等を推進する。 52 ディープテック、クライメイトテック、バイオ分野、ヘルスケア分野等。

新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2023改訂版 (該当箇所抜粋)

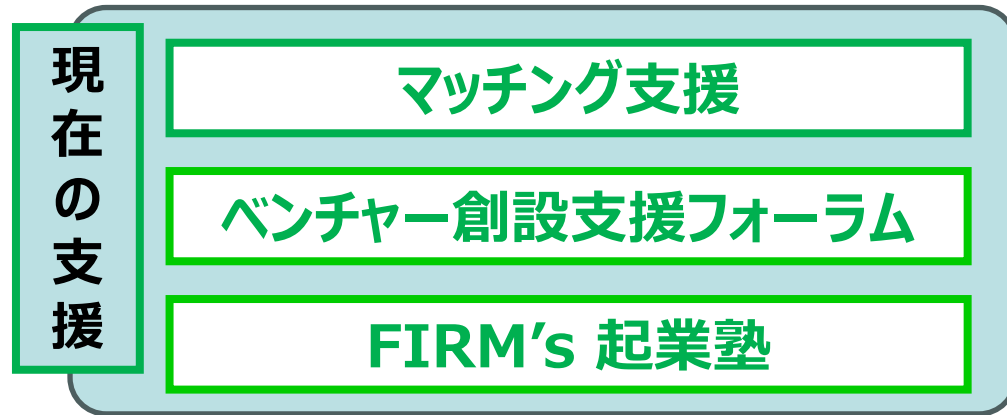
V-2-(4) スタートアップ創出に向けた人材・ネットワークの構築 ⑮分野の特徴に応じた支援強化・環境整備 i) バイオ

創薬ベンチャー創出の強化に向けて、日本の研究者とグローバル製薬企業等との人材流動性を高めることを含め、**日本と諸外国のエコシステムの接続を強化**する。



積極的なスタートアップ支援策が打ち出されるも、いずれも再生医療に特化したものではない。再生医療スタートアップのニーズを把握し、それらの支援に繋がるようステークホルダーに働きかけていく必要がある。

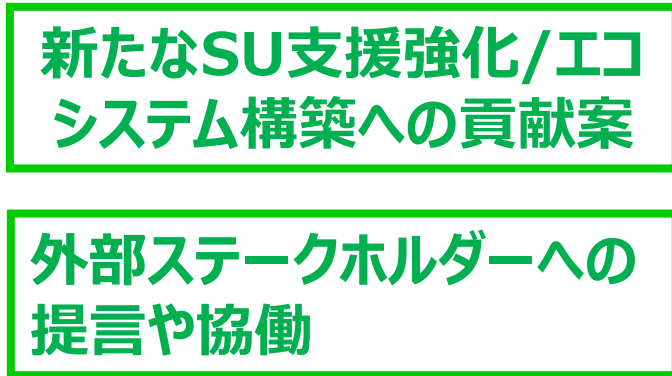
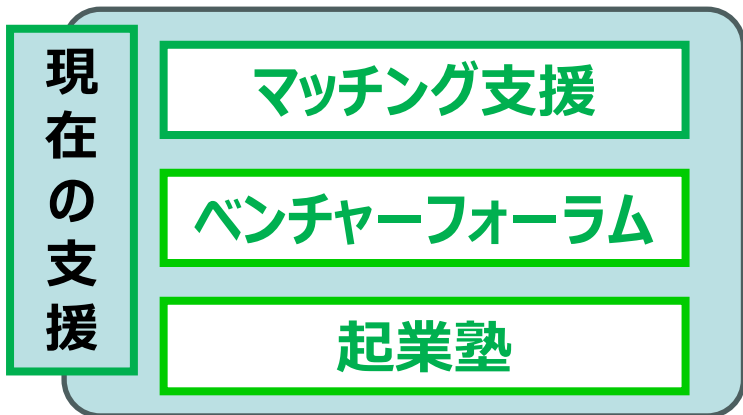
FIRMのスタートアップ支援活動（案）



これまでのFIRMの支援

- バリューチェーンの比較的上流～中流を中心にブロードな支援
- 国内限定

- 再生医療スタートアップ（以下SU）のニーズ / 官主導SU支援の方向性
- 再生医療関連企業のOne stop shopとしてのFIRMの特長



今後の支援の方向性（案）

- バリューチェーンのより広い領域
- 時により深耕
- 国内から海外への橋渡し
- 外部団体との共同

まとめ：スタートアップ支援の強化

<行政およびFIRMにおける支援の現状>

- 文部科学省や経済産業省など行政から積極的なスタートアップ支援策が打ち出されており、特に上流と下流の支援は手厚くなっているが、再生医療に特化した支援ではない。
- FIRMは上流～中流を中心に幅広く支援しているが、国内限定である。

<FIRMによる今後の支援の方向性>

- 現在の支援に加え、再生医療スタートアップのニーズや官主導スタートアップ支援の方向性をふまえ、FIRMの特長を生かした新たなスタートアップ支援強化およびエコシステム構築への貢献策を打ち出していく。
- スタートアップの支援に繋がるよう外部ステークホルダーへ提言し、協働していく。

Agenda

1. はじめに
2. 出口戦略としての薬価・規制制度
3. スタートアップ支援の強化
- 4. FIRM活動の強化**
5. ステークホルダーとの連携強化

FIRM活動の強化ポイント

サポーターイングダストリー委員会

施設・機器部会

原材料・資材部会

検査部会

物流部会

再生医療等製品委員会

規制制度部会

医療経済部会

製造関連部会

規制調和部会

特定細胞加工物等委員会

細胞加工部会

自費診療経済部会

CDMO部会

コンプライアンス委員会

標準化委員会

広報委員会

国際委員会

教育委員会

起業・事業化促進委員会

細胞評価及び製造基盤標準化委員会

ISO/TC276国内委員会

多能性幹細胞安全性評価委員会

- リバーストランスレーショナルリサーチ(以下 rTR) の受け手として内外ステークホルダー*との連携強化および、課題の整理・解決に向けた仕組みの構築

* : FIRM内は製品委員会など、FIRM外は再生医療学会、経済産業省など

- 出口戦略提言機能および、提言の実装に向けた活動の強化

- 安確法下における再生医療等の提供・普及に向けた活動（含 提言機能）の深化
- 国内CDMO事業者の競争力強化と再生医療の産業化に向けた活動の深化

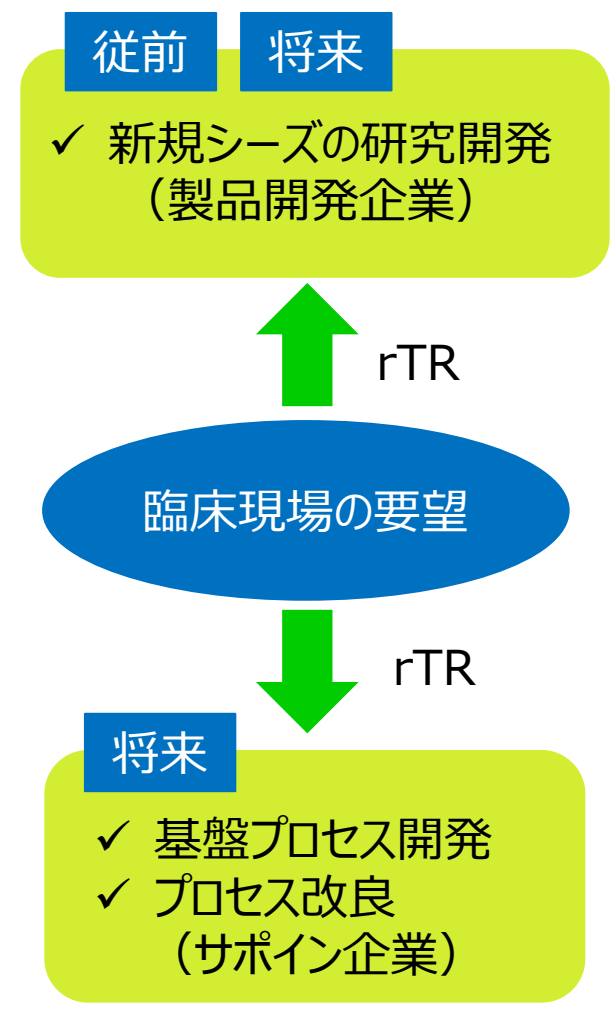
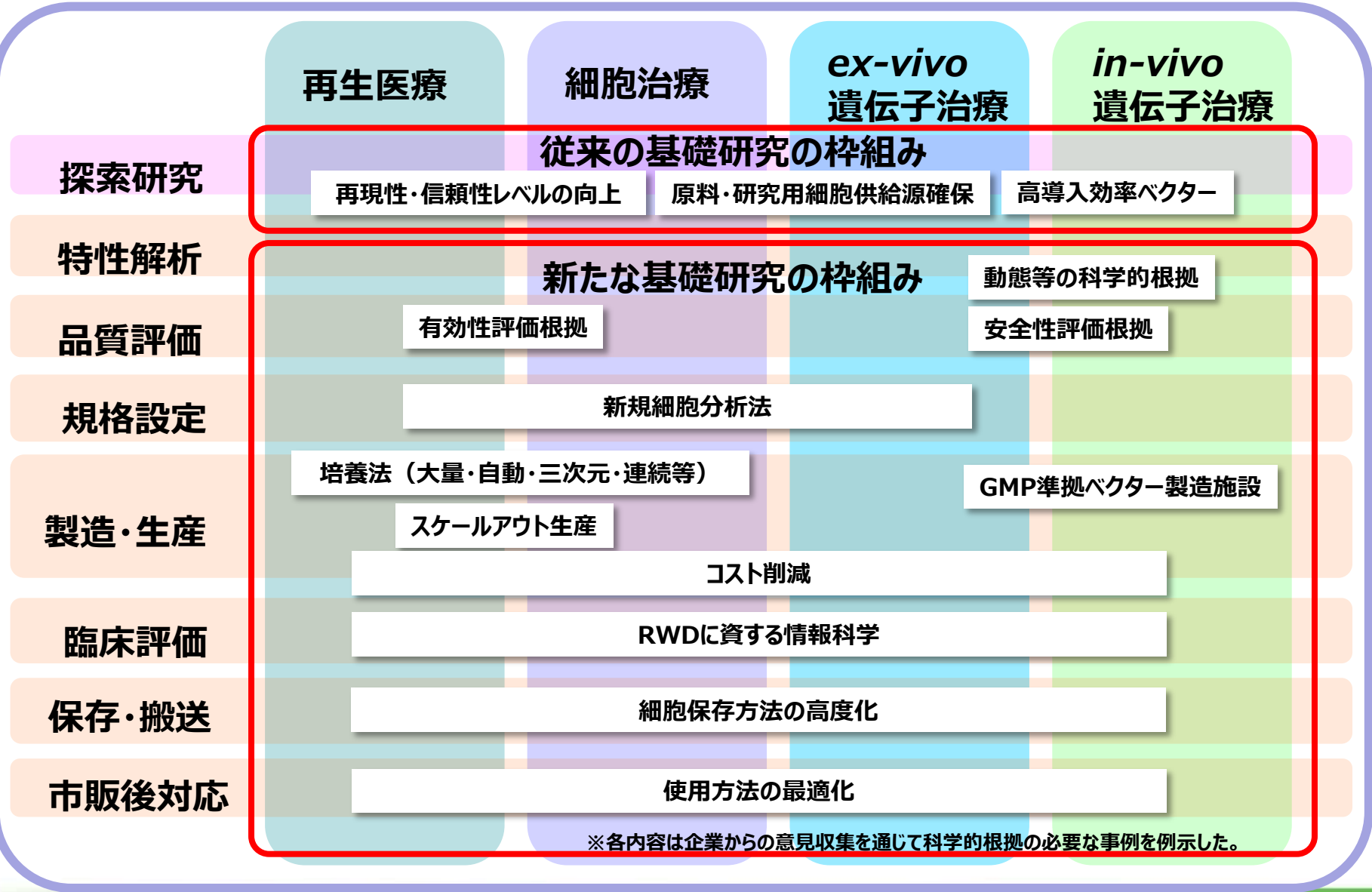
- 再生医療に関する世論形成を目指し、一般市民に向けた啓発活動の強化

- APACRM活動を踏まえた海外発信力の強化

- スタートアップ支援強化への貢献案の策定**

** : 運営委員会、運営企画会議との連携の下で実施

rTRの受け手としてのサポーターングインダストリーの重要性

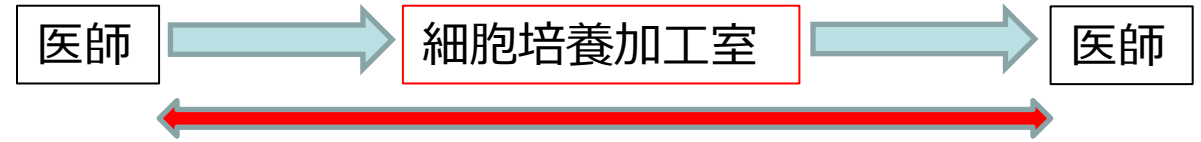


安全性確保法下における再生医療等の提供

細胞加工部会

Cell Processing Sub-Committee

部会における
議論範囲



- 患者の組織が医師から離れて、特定細胞加工物として医師に届けるまでが議論範囲。安全性確保法下における**細胞加工の「質」を維持**し、患者さんに適切な細胞加工物を届けるため、再生医療学会、行政関係者と連携し活動

患者さんの経済的負担を軽減することにより、安全性確保法下における再生医療等の迅速かつ安全な提供及び普及を目指す

- **保険外併用療養費制度**および、**民間保険**の利活用、科学的根拠に基づく有効性、安全施の確保に向けた**レジストリ**の利活用などを検討中

日本の再生医療製造の特長を強化し、課題の抽出・解決への活動を実施することを通じ、国内CDMO事業者の競争力強化と再生医療の産業化に貢献

- 国内**CDMO事業者の競争力強化**、**製造プロセス開発の必要性・重要性**に対する**アカデミアの理解促進**等の観点から、FIRM内外の専門家との意見交換を通じて論点を整理し、提言を策定するため活動中

自費診療経済部会

Medical Care Economics Sub-Committee

CDMO部会

Contract Development and Manufacturing Organization
Sub-Committee

市民への再生医療の啓発活動

FIRMのマスコットキャラクターを制作し、親しみやすさとわかりやすさを追求したFIRMオリジナル動画シリーズ。一般層に見てもらいやすいアニメとインタビュー動画を合わせたコンテンツを制作（昨年度2本制作）



第1弾：「どんな病気が治せるの？ 再生医療とは？」

第2弾：「白血球でがんを撃退！？新しい治療法って？」



- ターゲット層（20代～50代の一般の働き盛り世代）に興味・関心を持ってもらえそうなテーマをセレクト
- 第1弾を3月、第2弾を5月にFIRM公式YouTubeチャンネルで配信
- 治療法や疾患からの検索でもヒットするように設定
- 2023年度は3本配信予定

2023年度企画予定

- 日本発イノベーションの推進や再生医療産業化の課題等をテーマに、ビジネスパーソンをターゲットにしたデジタルメディアとのタイアップ企画を検討中
- 事業構想大学院大学の研究会への参画
- 再生医療学会の広報委員会との企画を検討中

Asia Partnership Conference of Regenerative Medicine

Mission 「革新的な治療方法である再生医療をできるだけ早くアジアの患者さんに届ける」

Purpose アジア各国・地域間の再生医療製品の規制の共通化と最適化を促進する
アジア市場の価値を最大限に拡大し、北米および欧州に匹敵する市場を創出する

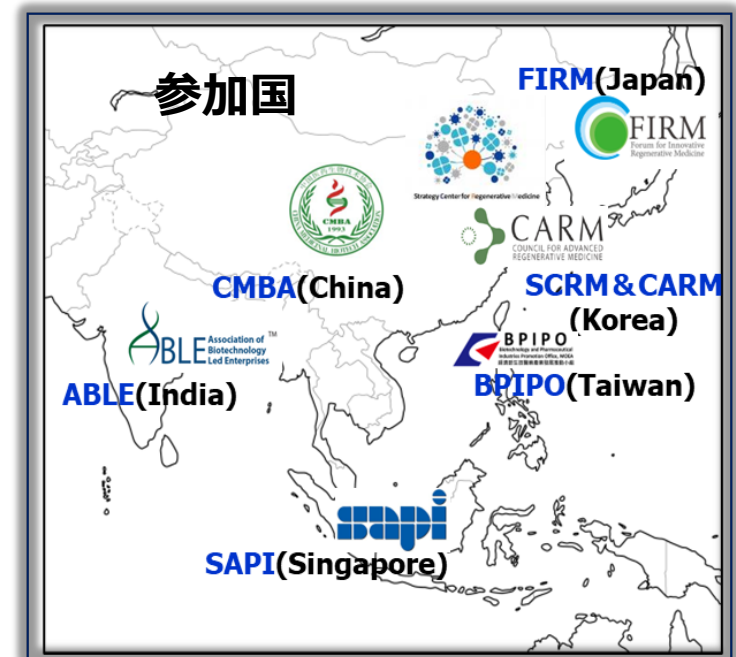
第6回 APACRM開催: 2023.4.20 (木) 4年ぶりのリアル参加者

➤ 今年の議論

WG1: 先進的な次世代CAR-T製品を題材に特異的に必要な非臨床評価データパッケージ

WG3: AAV遺伝子治療開発における臨床試験の考慮すべき点

日本の法律上で定義される再生医療安全確保法下でのビジネスに係るレギュレーション



- ✓ APACRMにおいて上記WGのテーマについて、日本及びアジア各国の規制・運用の異同を産学官で確認
- ✓ 会議結果を踏まえて各国の産業界が規制当局と議論し、規制の見直し・運用改善等が図られ、結果として各国の規制が徐々に調和する事を期待



海外MOU締結先も本活動に興味を示しており、ISCT等に参加してもらうと共に、会議内容を後日紹介

まとめ：FIRM活動の強化における今後の取組み

＜サポーティングインダストリー委員会＞

- リバーストランスレーショナルリサーチの受け手として、FIRM内外のステークホルダーとの連携を強化し、課題の整理・解決に向けた仕組みを構築する。

＜特定細胞加工物等委員会＞

- 安確法下で提供される再生医療等の品質の確保、普及に向けた課題の整理・提言、国内CDMO事業者の競争力強化と再生医療の産業化に向けて、部会活動を深化する。

＜広報委員会＞

- 再生医療に関する世論形成を目指し、デジタルメディア、事業構想大学院大学、再生医療学会との共同企画を通じて、一般市民への啓発活動を強化する。

＜国際委員会＞

- APACRMの結果も活用し、MOU締結先を含めた国内外のステークホルダーに対する戦略的な情報発信力を強化する。

Agenda

1. はじめに
2. 出口戦略としての薬価・規制制度
3. スタートアップ支援の強化
4. FIRM活動の強化
- 5. ステークホルダーとの連携強化**

再生医療の今後の発展に向けて



主な対外活動

- 各省庁の会議体への参画、国会議員へのロビー活動を通じて、再生医療業界の考えを発信

活動内容	
内閣府	<ul style="list-style-type: none"> • 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 委員
文部科学省	<ul style="list-style-type: none"> • 再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会 委員
厚生労働省	<ul style="list-style-type: none"> • 革新的医薬品創出のための官民対話 • 医薬品産業ビジョン策定に向けた官民対話 • 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 意見陳述 • 中医協 薬価専門部会 意見陳述
経済産業省	<ul style="list-style-type: none"> • バイオ小委員会 委員
AMED	<ul style="list-style-type: none"> • 細胞原料供給促進事業 委員
国会議員	<ul style="list-style-type: none"> • バイオサイエンス推進議連 • 再生医療を推進する議員の会 • 創薬力の強化育成に関するプロジェクトチームメンバーなどへのロビー活動

第51回再生医療を推進する議員の会 総会

- 6月15日、『再生医療リスタート 産業化元年 特別シンポジウム』を開催。FIRMおよびJSRMも企画から参画し、日本における再生医療の現状と、将来の勝ち筋について産学から紹介することとした
- 加藤勝信会長以下、自民党・公明党の国会議員、行政担当者、FIRM会員企業、再生医療学会員、メディアを含め250人以上が参加する大イベントとなった

日時 2023年6月15日 8時～9時

場所 衆議院第一議員会館 地下1階大会議室

講演 『再生医療実用化の価値をあらためて考える ～ いまさら聞けない再生医療』

登壇者

座長 澤 芳樹 先生、畠 賢一郎 会長* * : 開催時の役職名、# : Web参加

JSRM 岡野 栄之 理事長#、西田 幸二 副理事長、
中村 雅也 先生、高橋 政代 先生#、梅澤 明弘 先生

FIRM 志鷹 義嗣 副会長*、加納 浩之 運営委員長、
花村 遼 氏 (アーサー・ディ・リトル・ジャパン) 、
ビック・コーリン氏 (イノバセル)



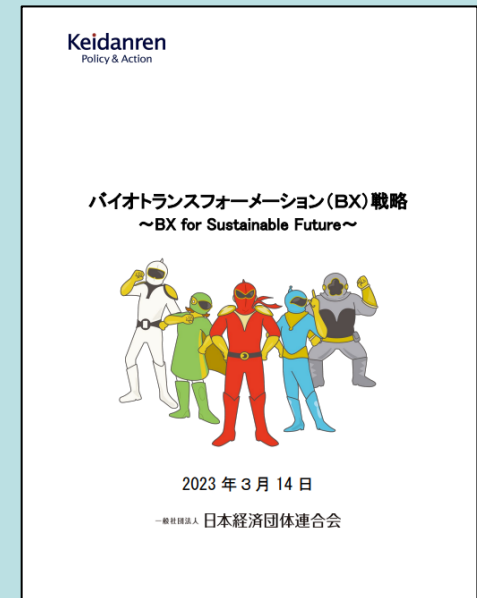
更に踏み込んだ議論のため、今秋の国会期間中の次回開催を企画中

経団連 バイオトランスフォーメーション（BX）戦略

- 2023年3月、経団連 バイオエコノミー委員会がバイオトランスフォーメーション（BX）戦略を公表
- レッドバイオ（医療・健康）は再生医療にも関わる分野であり、経団連の主張する必要施策はFIRMの主張とも一致

レッドバイオ（医療・健康）の必要な施策

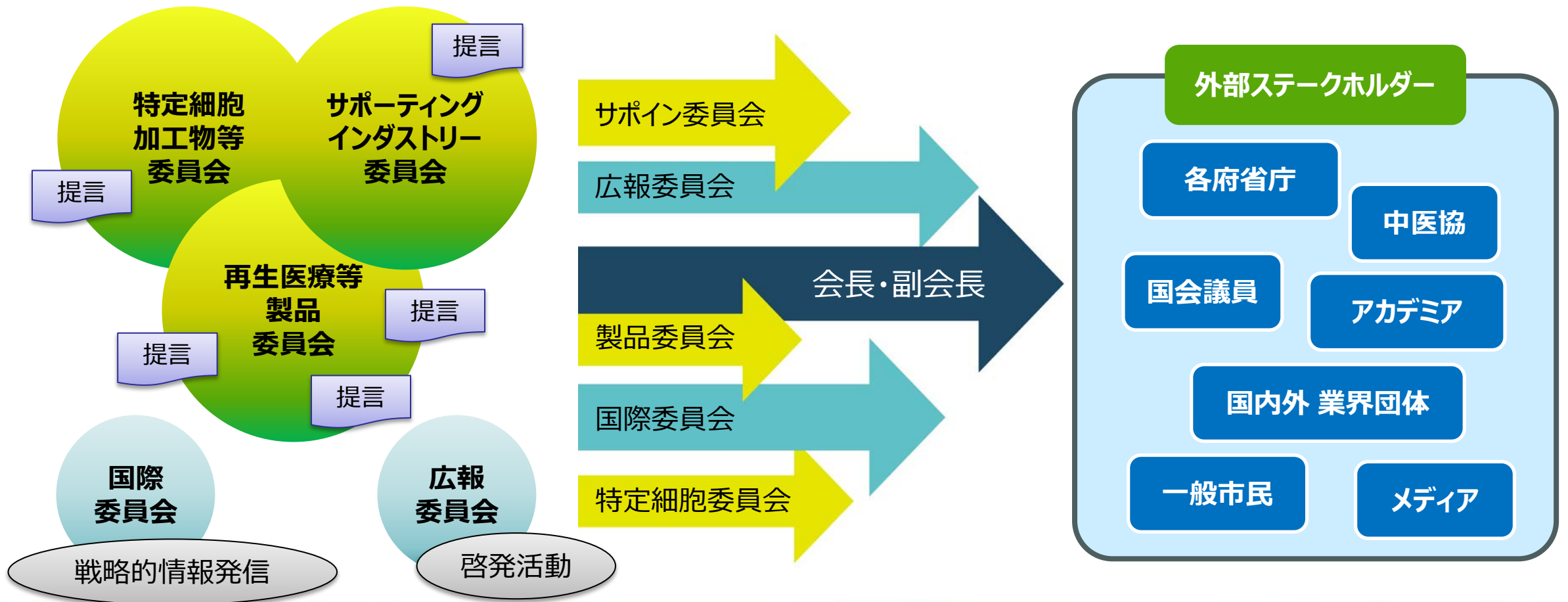
1. 再生医療等製品等における法規制の国際調和
2. 創薬ベンチャー支援事業の機動性強化
3. バイオ医療を促進するための支援技術の強化と産業活動への包括的支援
4. 再生医療等製品の価値や特徴を評価する新たな価格算定方式の導入
5. 全ゲノム解析等実行計画の加速推進
6. 治験実施環境の整備



経団連との活動連携を検討中

まとめ：ステークホルダーとの連携強化における今後の取組み

- 再生医療産業の発展に向け、サポーターインダストリー委員会、再生医療等製品委員会、特定細胞加工物等委員会の3委員会を中心に、課題の整理・提言の策定等を継続する
- そのために連携するステークホルダーを拡大し、国内外への戦略的な情報発信を実施する



ご清聴ありがとうございました

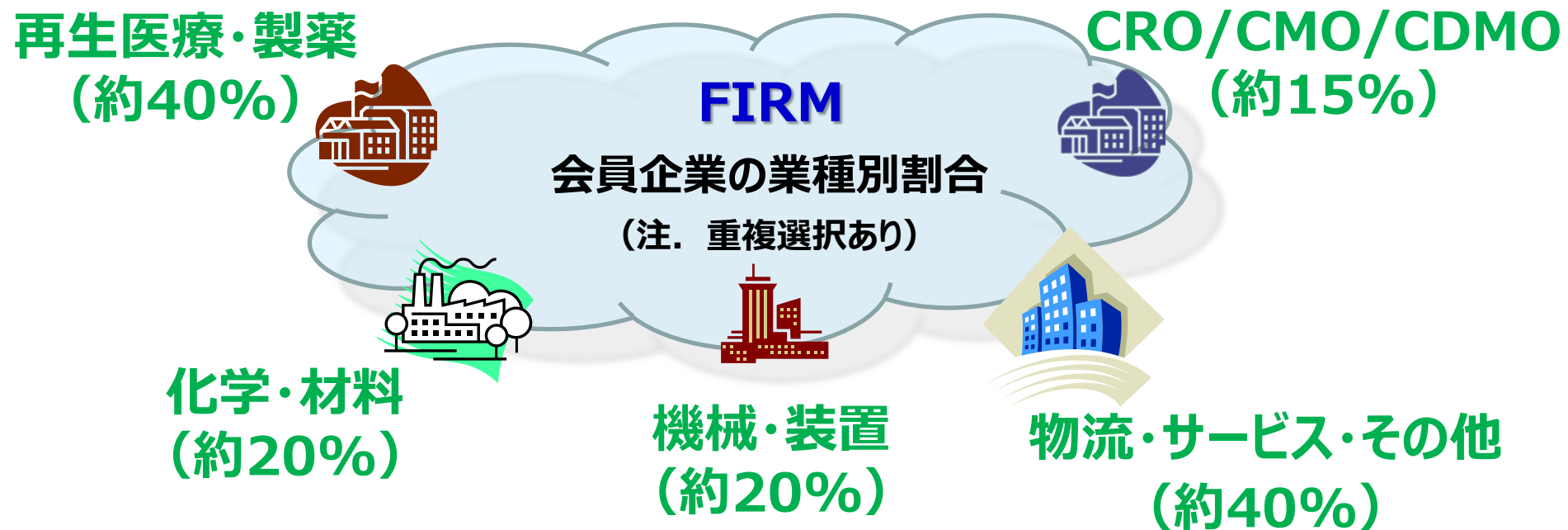


<https://firm.or.jp/>

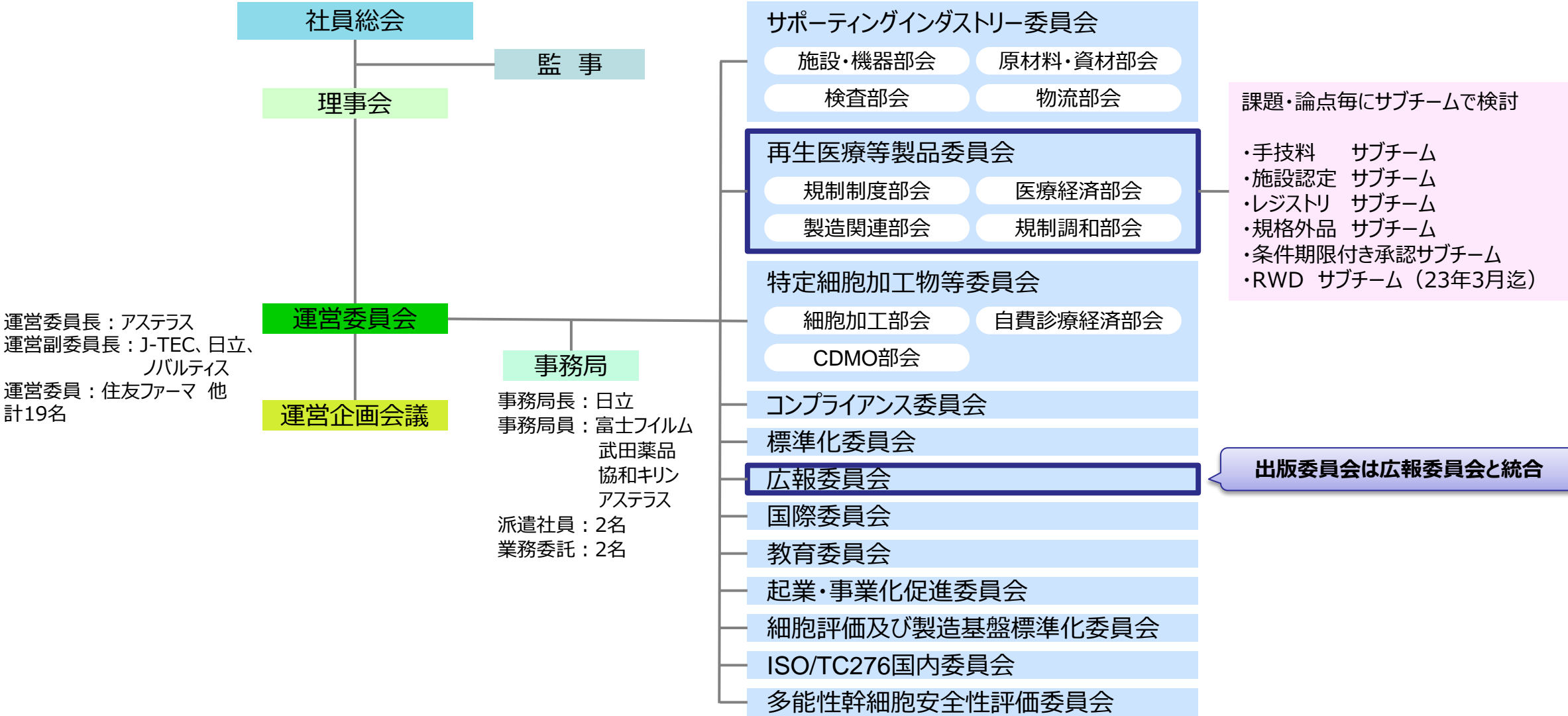
参考資料

(一社) 再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

- 2011年6月17日に設立した一般社団法人 (設立時会員14社)
- 日本の再生医療に関係する企業団体
- 日本の再生医療領域の産業化促進のために活動
- 2023年7月1日現在、企業・法人192社、個人13名



FIRMの組織体制（2023年4月～）



再生医療等製品の多様性：モダリティ

- 本邦で承認された再生医療等製品は20品目となり（2021年以降の約2年間で11品目）、そのモダリティも多様である

組織移植



ジェイス

重症熱傷（2007）
先天性巨大色素性母斑（2016）
表皮水疱症（2018）



ジャック

膝関節の外傷性軟骨欠損症
/離断性骨軟骨炎（2012）



ハートシート★

虚血性心疾患による重症心不全（2015）



ネピック

角膜上皮幹細胞疲弊症（2020）



オキュラル

角膜上皮幹細胞疲弊症（2021）



サクラシー

角膜上皮幹細胞疲弊症（2022）



ジャスミン

白斑（2023）

細胞移植



テムセルHS注

造血幹細胞移植後の急性GVHD（2015）



ステミラック注★

脊髄損傷に伴う神経症候/機能障害（2018）



アロフィセル注

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（2021）



ビズノバ

水疱性角膜炎（2023）

ex vivo遺伝子治療



キムリア点滴静注

再発又は難治性B細胞急性リンパ芽球性白血病
/びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（2019）
再発又は難治性濾胞性リンパ腫（2022）



イエスカルタ点滴静注

自家造血幹細胞移植に適応のある場合は
2レジメン以上の治療歴、適応のない場合には
1レジメン以上の治療歴のある
再発又は難治性大細胞型B細胞リンパ腫（2021）
自家造血幹細胞移植に適応のある
1レジメンの治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫（2022）



ブレヤンジ静注

2レジメン以上の治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫（2021）
1レジメンの治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫（2022）



アベクマ点滴静注

再発又は難治性多発性骨髄腫（2022）



カービクティ点滴静注

再発又は難治性多発性骨髄腫（2022）

in vivo遺伝子治療



コラテジェン筋注用4mg★

慢性動脈閉塞症における潰瘍（2019）



ゾルゲンスマ点滴静注

脊髄性筋萎縮症（2020）



ルクスターナ注

遺伝性網膜ジストロフィー（2023）

in vivoウイルス治療



デリタクト注★

悪性神経膠腫（2021）

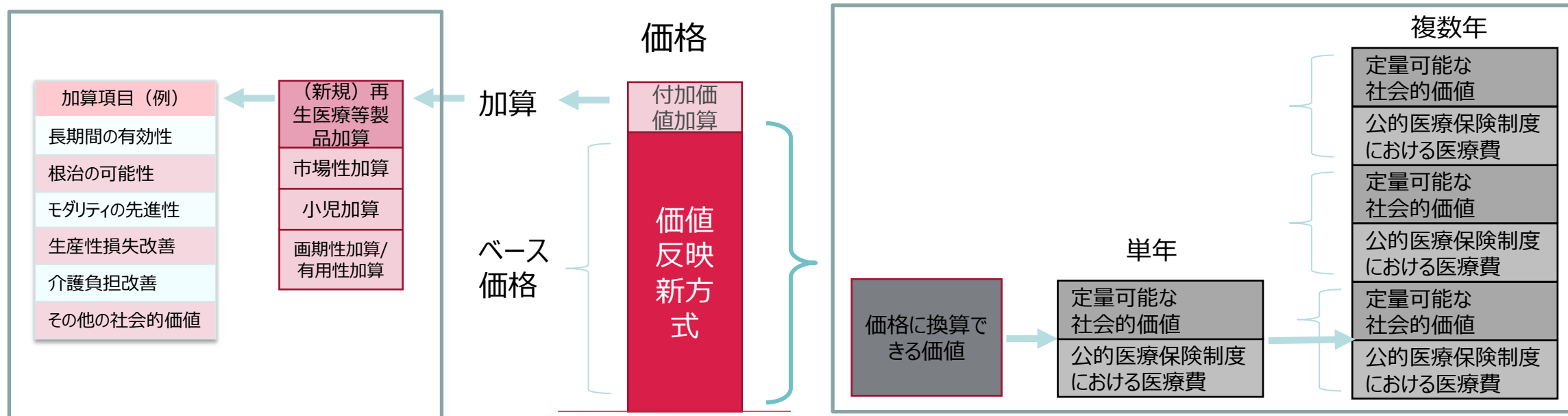
日本発

海外既承認
/類似品海外既提供

★：条件及び期限付き承認

FIRM 案1 医療費や社会的価値に基づいた価格算定

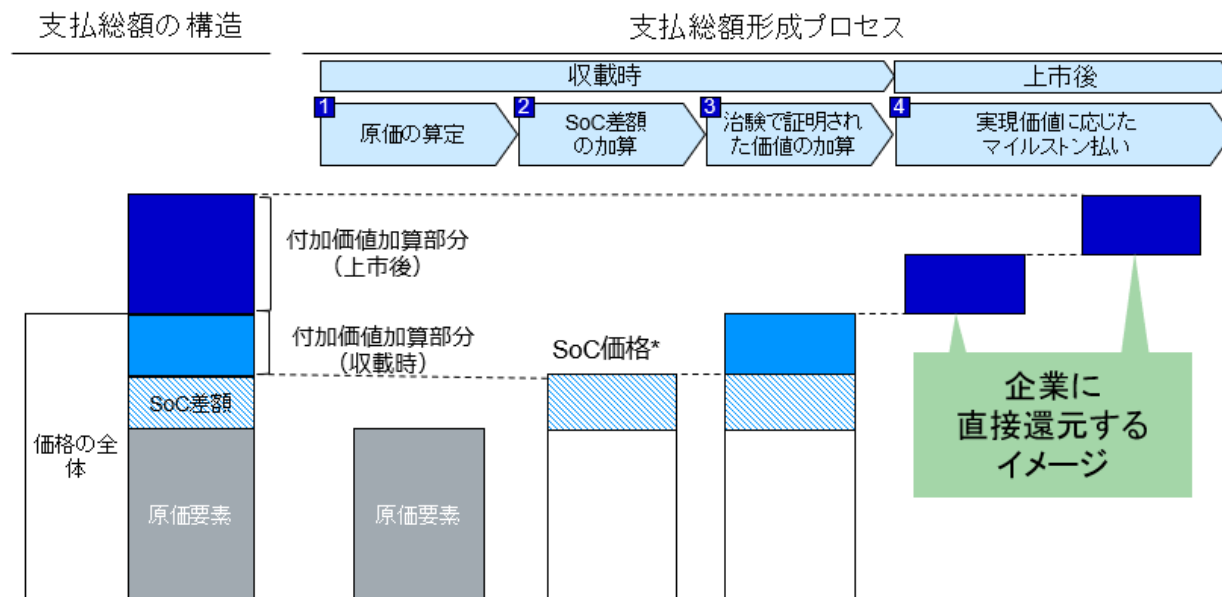
- ◆ 初期価格に再生医療等製品の価値を反映して評価する方式
 - 「既存の標準治療の医療費」を「価格に換算できる価値」と見做して価格として積み上げる
 - 当該製品の上市によってもたらされる定量可能な社会的価値（生産性損失や介護費用など）も価値として価格に反映する
 - 再生医療等製品の特徴の一つである「長期間の有効性」を考慮し、複数年分の医療費、社会的価値を価格に反映する
 - 上記で評価しきれない定量困難な再生医療等製品の価値・特徴を「付加価値加算」で反映させる
 - 再生医療等製品の価値を示すデータは企業が責任を持って提示する



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



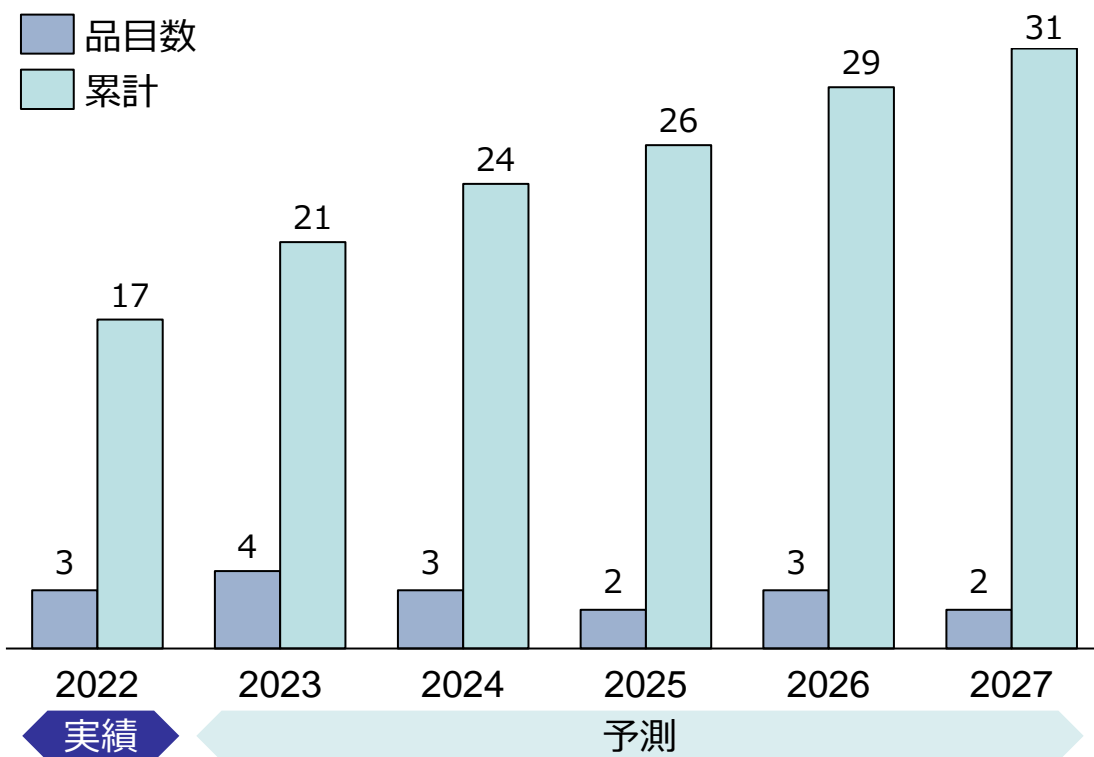
還元モデルは①対象製品に直接的に還元する手法と、②将来製品に還元する手法*が考えられる

*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

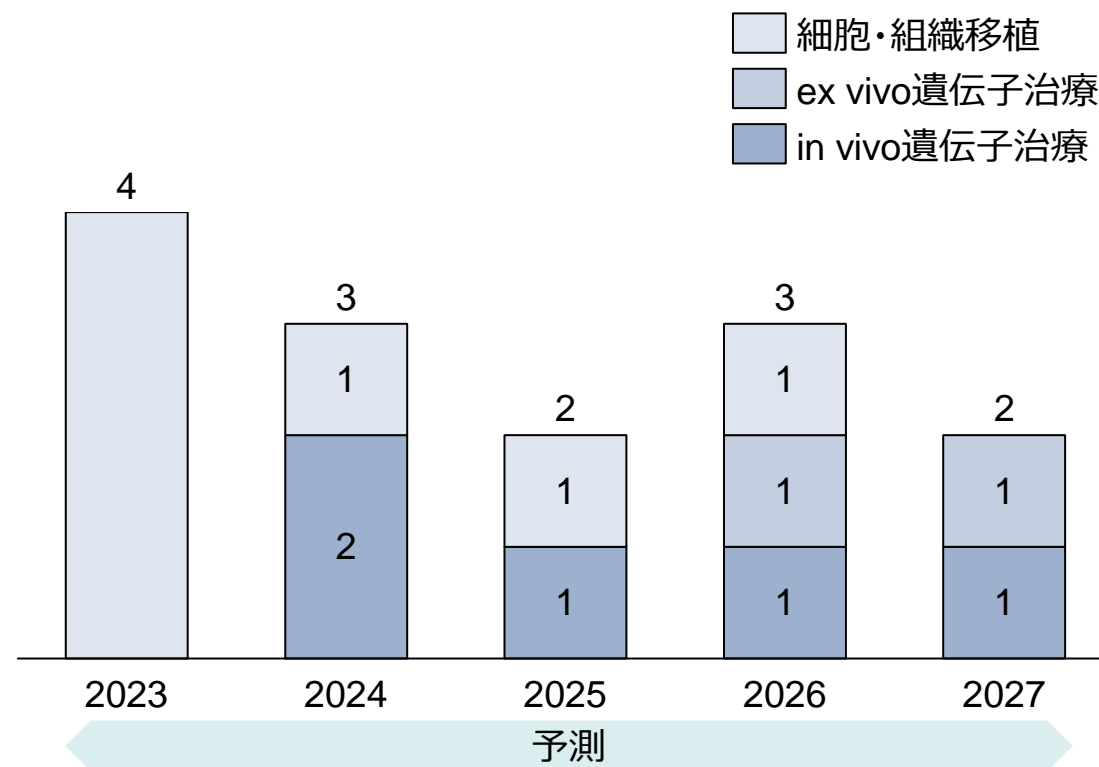
将来の上市品目数の想定

- 現状、開発中のパイプラインが上市されることを踏まえると、2027年には30品目まで上市品数が伸びる試算となる

国内上市品目数の推移予測



2023年以降上市予測品のモダリティ内訳



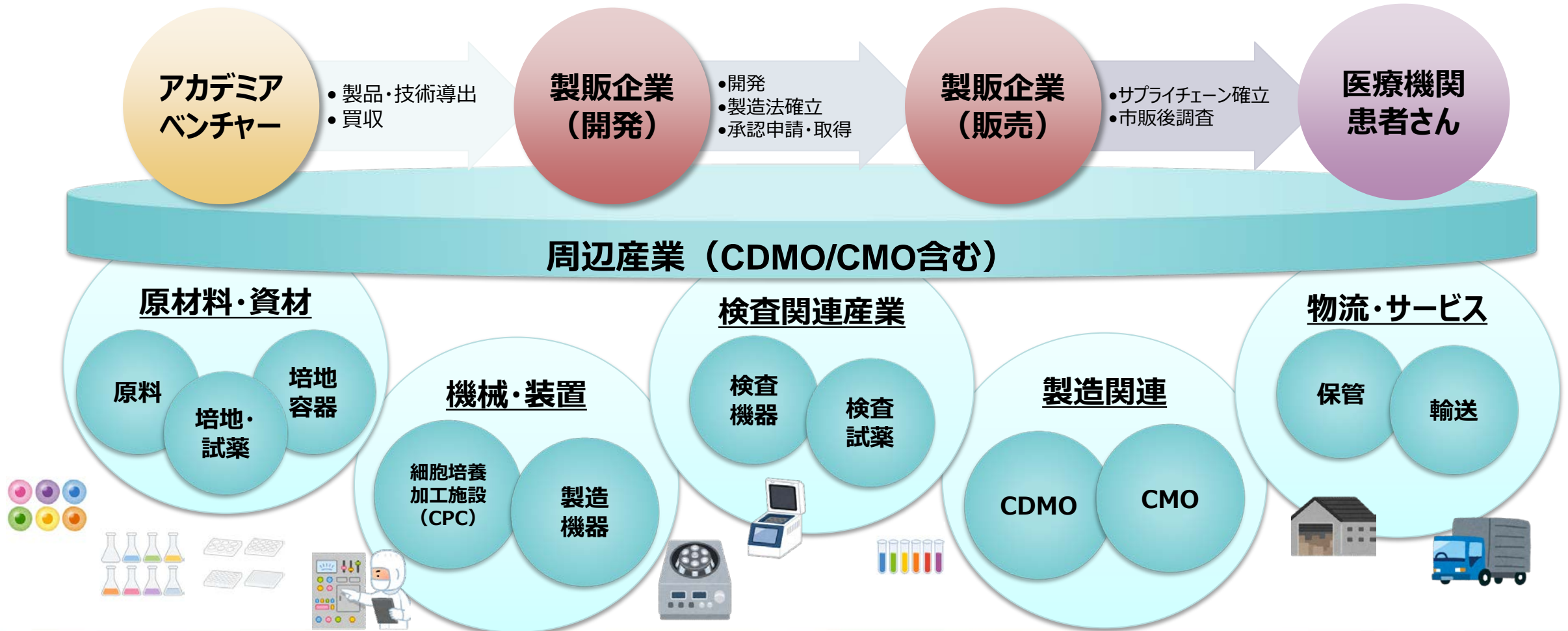
上市品目数予測方法：（23年）承認了承の2品目に加え、Evaluate Pharmaデータベースより抽出した承認申請中の製品数に上市成功率をかけた値を足して算出。（24年～27年）2021年9月時点のパイプラインを母集団とし、当時の開発フェーズ毎に上市確率を積算することで、2024～2027年の上市品の期待値を計算。上市する想定タイミングに関しては、各フェーズにかかる時間以外にPMDA認証等の期間も考慮し、日本での臨床試験が実施されていない場合にはグローバルでの臨床試験状況に合わせて日本でも臨床試験を追加実施すると想定して算出した。

再生医療等製品の多様性：産業構造

- 再生医療等製品が患者さんに届くまで、**アカデミアや医療機関、多くの周辺産業***との連携が必要となる

*CDMO（受託製造）含む

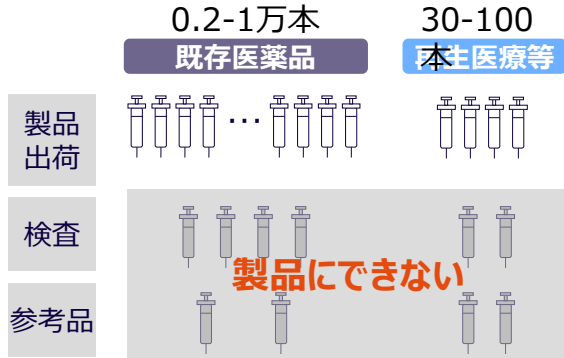
再生医療等製品のバリューチェーン



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



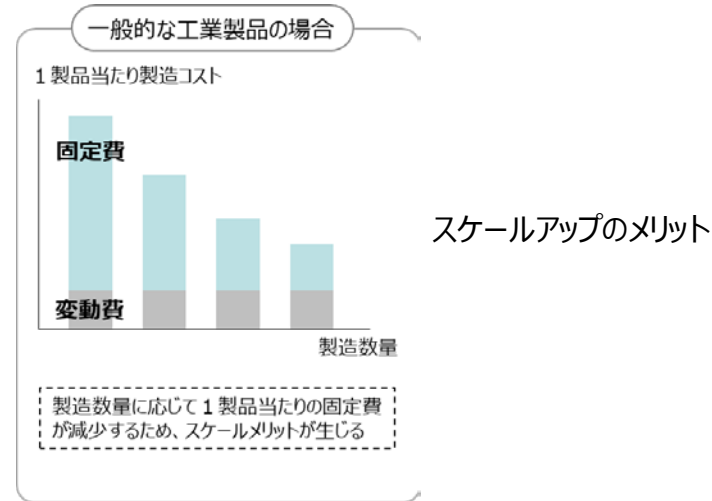
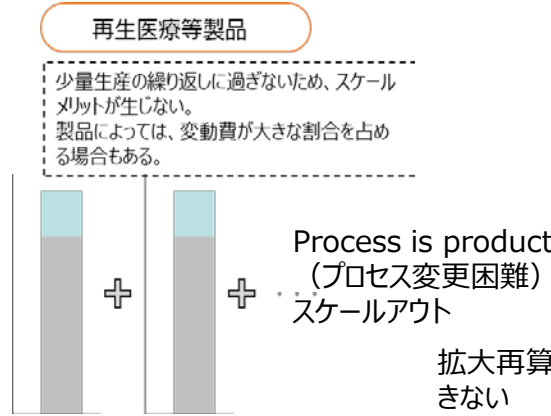
- 再生医療等製品は、既存の医薬品と比較して一回のロットで製造する量が少ない。そのため、ロットごとに必要な**検査用製剤の占める割合が総製造量に対して大きく**、コストとして重い
- 具体例（A社、他家細胞製品）
 - 1ロット平均70バック製造に対し**出荷試験16本、参考品19本保管が必要**なため、**製品出荷は35本（50%）となる。**（30-100本の製造を想定、30本しか細胞が取れない場合は、**出荷できずロットアウト**となる）
（参考）：抗体医薬は0.2-1万本（1ml/本）に対し200-300本と数%程度）

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

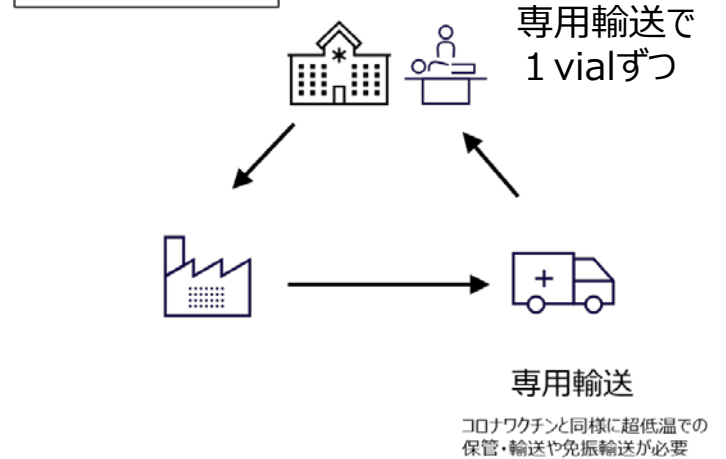
検査単価が高い（ウイルス否定試験）

スケールメリットが生じない

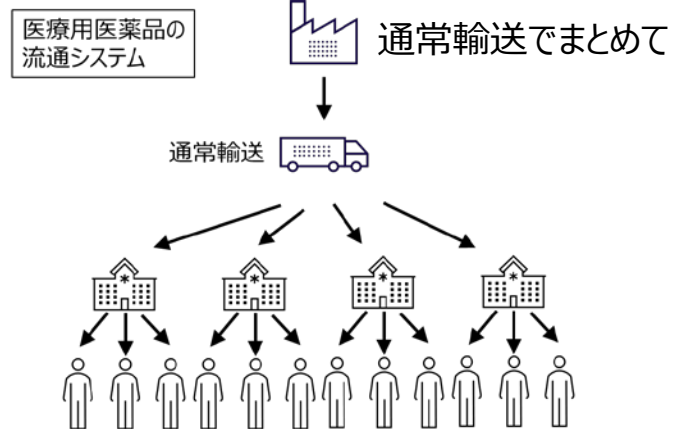


◆ 流通に係る違い

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

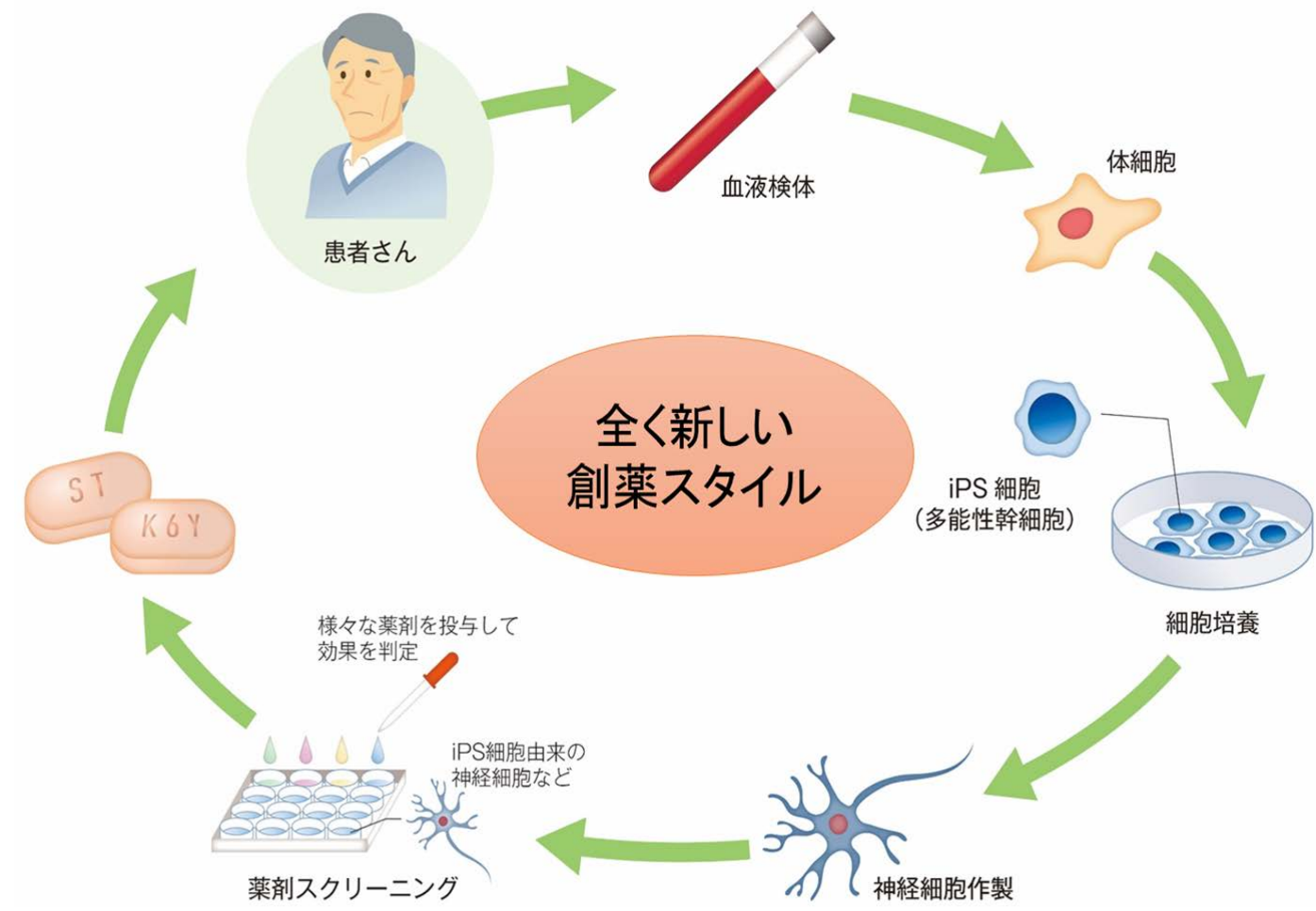


再生医療の産業への展開

グリーンバイオ（食料）への応用



レッドバイオ（創薬）への応用



出典：Fujimori et al. Nat Med, 2018; Okano and Morimoto. Cell Stem Cell 2022