

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）
2025年7月9日

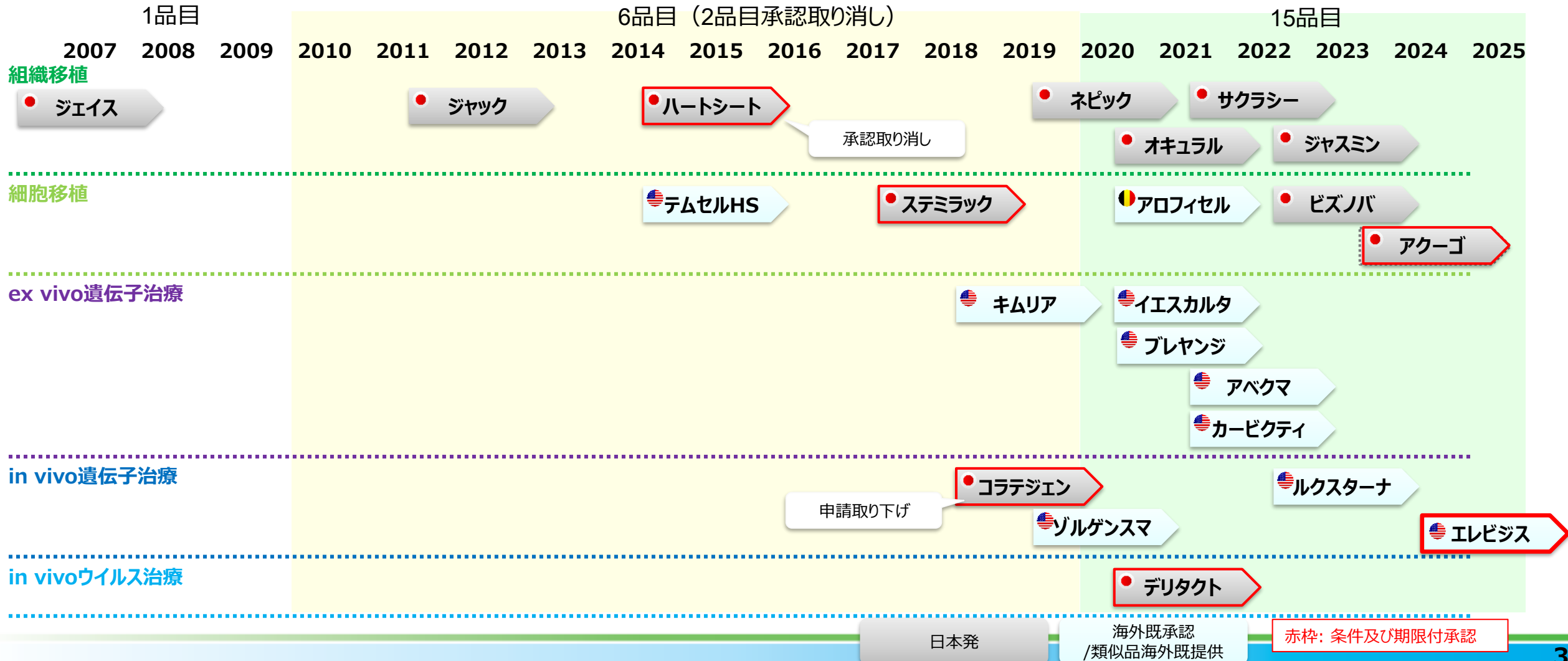
FIRMの再生医療等製品の価格算定に対する意見

- ① **再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた新たな価格制度について産官学での検討**
 - ✓ 再生医療等製品の多様性やそれがもたらす価値の評価方法の確立（例えば、再生医療等製品に特化した厚生労働省での検討チーム等）
 - ✓ そのための厚生労働省および関連有識者との議論の場の設置
- ② **暫定的な対応として、再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた現行算定方式の改善**
 - ✓ 現行の算定方式及び有用性系加算の改善と市場拡大再算定の対象から除外
- ③ **早期患者アクセスのために、条件及び期限付承認された再生医療等製品の公的医療保険適用の継続**

「患者アクセス」と「新規モダリティのイノベーション評価」を踏まえた 引き続きのご検討をお願い致します。

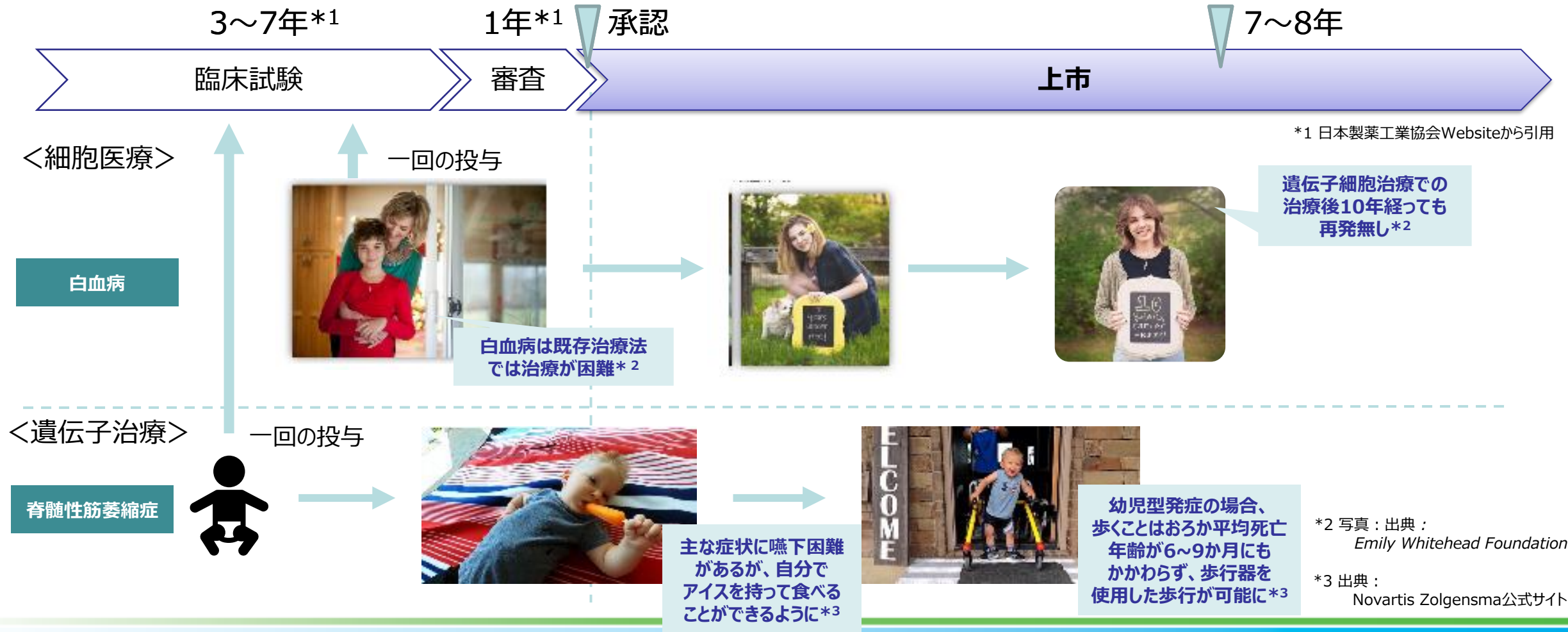
日本における再生医療等製品の承認は加速度的に増加

- 本邦で承認された再生医療等製品は2025年6月時点で20品目、近年はその品目数は加速度的に増加
- 今後、iPS細胞製品等、新たな再生医療等製品の承認が想定



再生医療等製品の特長と患者に提供しうる価値

- 有効な治療法がない、もしくは限られている患者さんへの新たな治療法の提供
- 少ない投与回数で持続的な有効性を示し、患者さん、ご家族の負担軽減



再生医療等製品と既存医薬品の違い（特徴の全体像）

- 研究開発から医療機関における投与まで、既存医薬品とは異なる知財、人材、コスト、原材料や専用設備が必要で、大量生産ができずスケールメリットが得られない
- 希少疾患のため対象となる患者は少なく、多額な投資に対して収益の回収は限定的

		再生医療等製品	低分子医薬品・ バイオ医薬品
研究開発	規制	日本の規制（カルタヘナ等）が障壁	ICH により国際的に調和
	特許	多くの特許が関連（ライセンス料増）	物質特許で保護
	人材	高度技術を持つ人材が少なく、育成の必要性が高い	豊富
製造	医療機関	製造の起点として細胞の採材等が必要	－（医療機関で採材は不要）
	製造	高額な原材料（GMPLレベルのベクター等）が必要 - 産業との連携が必要 - モダリティごとのGCTP省令に準拠した専用設備投資が必要 大量生産できずスケールメリットが得難い	- 設備を同じモダリティに流用可能 - 関連産業は限られている - 大量生産可能で工業的
	品質	- 細胞や遺伝子の均質化が困難 多様かつ多段階の品質保証試験（マーカー発現、ウイルス検査）	- 均質化が容易 - 品質保証試験は一定程度
流通	輸送	専用の輸送インフラ（-150℃等）が必要	通常設備で輸送可能
投与	医療機関	専門施設に限定され、医師の手技に依存（講習費用等） - 医療機器算定の販管費上限が課題	広く使用
	対象患者	希少疾患のため少ない - 自家細胞は完全個別化医療	生活習慣病を含め比較的多い

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・特徴を踏まえた新たな価格制度について産官学での検討**
 - ✓ 再生医療等製品の多様性やそれがもたらす価値の評価方法の確立（例えば、再生医療等製品に特化した厚生労働省での検討チーム等）
 - ✓ そのための厚生労働省および関連有識者との議論の場の設置
- ② **暫定的な対応として、再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた現行算定方式の改善**
 - ✓ 現行の算定方式及び有用性系加算の改善と市場拡大再算定の対象から除外
- ③ **早期患者アクセスのために、条件及び期限付承認された再生医療等製品の公的医療保険適用の継続**

「患者アクセス」と「新規モダリティのイノベーション評価」を踏まえた 引き続きのご検討をお願い致します。

Appendix

再生医療等製品独自の制度検討の経緯

- 10年前、再生医療等製品の保険上の独自の体系について、知見が蓄積した後に検討することとされた
- 令和6年改定に際し、FIRMからは再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた制度検討を求めているところ
- 同改定時には、再生医療等製品のイノベーションの評価について、次期改定に向けて検討を進めることとされた

再生医療等製品の医療保険上の取扱いについて

- 再生医療等製品の保険適用に係る取扱いについては、平成 26 年 11 月 5 日の中医協総会において、以下のとおり了承されたところ。

<平成 26 年 11 月 5 日 中医協総－2－1（抜粋）>

1. 保険適用に係る今後の対応について

- 再生医療等製品の保険適用に関する当面の間の対応
 - 薬事法改正後に承認（条件・期限付承認を含む。）された再生医療等製品については、保険適用の希望のあった個別の製品の特性を踏まえ、医薬品の例によって対応するか、医療機器の例によって対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断
 - 薬価算定組織又は保険医療材料等専門組織で償還価格について検討
 - 上記検討の結果を踏まえ、中医協総会で薬価基準又は材料価格基準に収載するかを審議
- 再生医療等製品に関する知見が蓄積した後の対応
 - 再生医療等製品の保険上の取扱いに関し、独自の体系を作るかどうかなどについて、引き続き中医協総会で検討

平成 26 年 11 月 5 日 中医協総－2－1（抜粋）

1. （6）新規モダリティのイノベーション評価

薬価制度改革の骨子

①原価計算方式における開示度向上

- 原価計算方式における開示度向上はかねてからの課題であり、開示度に応じた措置を講じているが、最近の新薬の開発が世界的な新興企業によって進められているものが多いこと、開発・製造が企業やグループ会社内で完結するのではなく、委託なども含め様々な企業が関わりながら進められている現状を踏まえると、ドラッグ・ラグ/ロスへの影響を回避しながら**実効性を伴う見直しを行うことは難しいことを踏まえ、今回の薬価改定では特段の見直しは行わず、次期薬価改定に向けて検討を進めることとする。**
- 原価計算方式には透明性の確保に関する課題があることを踏まえ、**類似薬効比較方式による算定を進めるための具体的な方策について、次期薬価改定に向けて検討を進めることとする。**

②新規モダリティのイノベーション評価

- 再生医療等製品も含め、新規モダリティなど類似薬がない革新的新薬における薬価上の適切なイノベーション評価のあり方等について、**次期薬価改定に向けて検討を進めることとする。**

令和 6 年度薬価制度改革について 令和 6 年 3 月 5 日版

再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた算定と議論する場の設置

これまでの治療概念を覆す再生医療等製品の上市において、持続可能な医療保険制度の整備しながらも、創薬イノベーションおよび産業発展に資する、価格算定の整備が求められる。

実現に向け、まずは**産官学で議論する場の設置**が必要である。

- 再生医療等製品のイノベーションを適切に評価しうる**新たな価格算定の仕組み**の速やかな導入
- 再生医療等製品の提供体制を構築する**医療機関への適切な対価・支援**の提供

	項目	具体例	対応
再生医療等製品の特長・特徴	臨床的価値に資する「特長」	■ 単回投与等による長期の有効性・安全性、治療完結や疾患の根治	・ 治療完結などの革新性を評価する仕組み ・ 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にも反映できる仕組み
	社会的価値に資する「特長」	■ 上市後に得られる有効性の持続等のエビデンス ■ 難病患者、小児患者の疾患からの解放（倫理的） ■ 生産性損失の軽減（経済的） ■ 介護からの解放（臨床的・間接的）	
	社会的価値に資する「特徴」	■ 最先端の科学の普及、イノベーションの推進、産業発展のための投資 ■ 個別化医療の実現	
			・ 特長・特徴を踏まえての制度が必要 ・ 制度構築に向けて、産官学での議論の場が必要 ・ 制度構築まで時間を要する場合には、暫定的・緊急的な対応策として、特長・特徴を現行算定方式に反映すべき

① 再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた新たな価格制度の必要性

再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた新たな価格制度について産官学での検討

再生医療等製品に特化した、厚労科研費での検討チーム等や、そのための厚生労働省および関連有識者との議論の場を設置

開発品目数が加速度的に増加しており、速やかに新たな評価体系を構築する必要性

再生医療等製品のイノベーションを適切に評価しうる新たな価格算定の仕組みの速やかな導入

- ・ 単回（もしくは複数回）の投与で持続的な有効性等
- ・ 費用構造含め、ビジネスモデルが異質

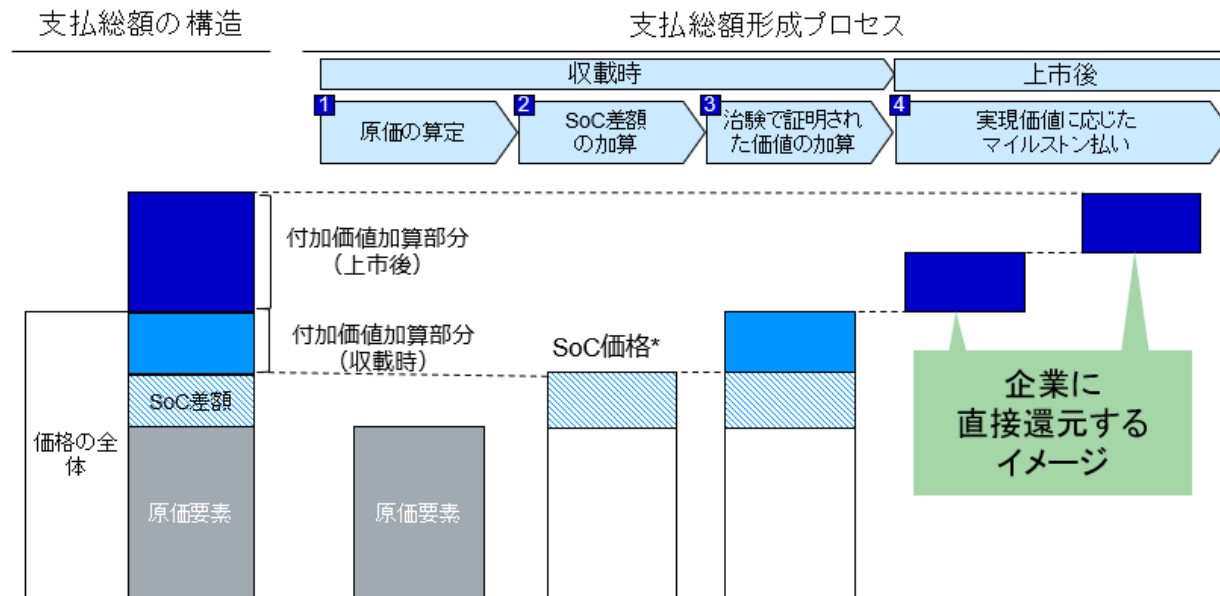
再生医療等製品の提供体制を構築する医療機関への適切な対価・支援の提供

-
- The diagram illustrates the process of calculating the value of medical products, showing the flow from 'Price' (価格) to 'Value' (価値) and then to 'Single Year' (単年) and 'Multiple Years' (複数年) calculations.
- 価格 (Price)**
- 付加価値加算 (Value-added calculation)
 - 価値反映新方式 (New method for reflecting value)
- 加算 (Addition)**
- (新規) 再生医療等製品加算 (Addition for regenerative medical products, etc.)
 - 市場性加算 (Marketability addition)
 - 小児加算 (Pediatric addition)
 - 画期性加算/有用性加算 (Addition for breakthrough/utility)
- ベース価格 (Base Price)**
- 加算項目 (例) (Addition items (example))
 - 長期間の有効性 (Long-term effectiveness)
 - 根治の可能性 (Possibility of cure)
 - モダリティの先進性 (Advanced modality)
 - 生産性損失改善 (Improvement in productivity loss)
 - 介護負担改善 (Improvement in nursing burden)
 - その他の社会的価値 (Other social value)
- 価値 (Value)**
- 価格に換算できる価値 (Value that can be converted to price)
- 単年 (Single Year)**
- 価値に換算できる価値 (Value that can be converted to price)
 - 定量可能な社会的価値 (Quantifiable social value)
 - 公的医療保険制度における医療費 (Medical costs in the public medical insurance system)
- 複数年 (Multiple Years)**
- 定量可能な社会的価値 (Quantifiable social value)
 - 公的医療保険制度における医療費 (Medical costs in the public medical insurance system)

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

② 革新的な有効性・安全性と製造の複雑性を反映する算定の提案（喫緊の対応）

再生医療等製品の**特長**を踏まえた価格算定

➤ 類似薬効比較方式の改善

フェーズによらず、十分な期間にわたり患者を観察している臨床試験データに基づく薬剤費合わせ

- 長期の有効性・安全性という特長を価格に反映させるため、最終段階の臨床試験のみならず、Phase1やPhase2、継続試験データを用いた価格算定を可能とする運用

➤ 補正加算の改善

単回による治療で長期的有効性・安全性を有する製品を評価する、新たな有用性加算要件の確立

- 単回治療による長期の有効性・安全性、無治療期間の提供は、臨床的・社会的価値が高く、利便性の向上とは明確な区別が必要

価格が1,000万円かつ売上50億円を超える再生医療等製品の補正加算における傾斜配分の廃止

- イノベーションの評価の観点から、単回の価格や市場規模予測のみに着目した傾斜配分の廃止

再生医療等製品の**特徴**を踏まえた価格算定

➤ 原価計算方式の改善

再生医療等製品特有の製造コスト、必要な委託費用の、原価計算方式への適切な反映

➤ 市場拡大再算定の対象から除外

複雑な製造、個別化製造を踏まえ、供給リスクを起こさないよう、市場拡大再算定の対象からの除外

- 複雑、または個別化された製造工程を必要とし、高度で専門的な設備、人材、品質管理、物流、製造後の運用に多大な費用がかかり、大量生産によるコスト削減は困難
- 世界的に供給体制が限られる中、患者に対する既存および新規の再生医療等製品の持続可能な供給を確保することは極めて重要
- 日本の価格制度や為替の影響によって、患者アクセスの継続や、研究開発・国内製造・専門的な供給体制（CMO/CDMOを含む）への継続的投資が困難となる可能性

③ 条件及び期限付承認を受けた再生医療等製品

早期患者アクセスのため、条件及び期限付承認された再生医療等製品の 公的医療保険適用の継続

- 重篤な患者さんに新しい治療選択肢を早く届ける「条件及び期限付承認制度」の意義について、ご理解をいただいていること、深く感謝申し上げます。
- 条件及び期限付承認を得た製品のうち2製品が承認取り消しとなり、代替エンドポイントから真の臨床的エンドポイントを検証する難しさも露呈しております。2024年3月に発出されたガイダンス¹⁾や評価指標²⁾を参考に、PMDAとの協議や相談による製造販売後の承認条件評価計画の策定が重要と認識を強めております。
- 製造販売承認後の有効性の検証や安全性のさらなる評価に際し、公的医療保険の適用から外れることで、治療アクセスを制限のみならず、製造販売後の評価データ集積の阻害に繋がることも危惧しております。

1) 再生医療等製品に係る条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンス(医薬機審発0329第3号 令和6年3月29日) <https://www.pmda.go.jp/files/000267914.pdf>

2) ヒト由来の間葉系幹細胞若しくは間葉系間質細胞を原料とするヒト細胞加工製品の条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画に関する評価指標 (医薬機審発0329第4号 令和6年3月29日) <https://www.pmda.go.jp/files/000267915.pdf>

抗体医薬との製造～投与の違い まとめ

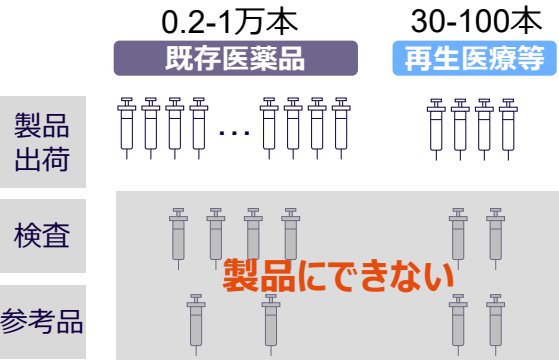
既存医薬（抗体医薬）との 製造～投与プロセス上の違い		概要と費用上の違い	組織移植	細胞移植	ex vivo 遺伝子	in vivo 遺伝子
1	患者/ドナーからの細胞/骨髄液調達 & 自家では該当患者への投与が必要	- 自家は病院で患者からの血液採取を行い、製造後に<u>該当患者に投与</u>する必要がある - 他家も複数製造ごとにドナーからの入手が必要 採取時の手技料や、流通インフラ構築等の流通経費が反映されていない	✓	自・他	✓	
2	製造の個別性が高く 規模の経済が働かない	- 自家の場合、患者個々の細胞調整が必要で、その後の製造プロセスも個別。製品毎・患者ごとの少量多品種製造に対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	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	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</u>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			✓	
		プラスミド				✓
6	製品ごとに多様な品質検査が必要	- 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	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	- 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	<u>長期の症例追跡に関する費用</u>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	- 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	✓	✓

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

スケールメリットが生じない



- 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)

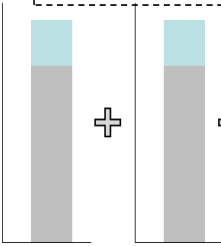
工程全体でかかる検査費用が高い

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）

再生医療等製品

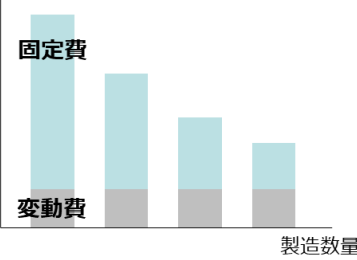
少量生産の繰り返しに過ぎないため、スケールメリットが生じない。
製品によっては、変動費が大きな割合を占める場合もある。



Process is product
(プロセス変更困難) の為、
スケールアウトで対応
拡大再算定に適用できない

一般的な工業製品の場合

1製品当たり製造コスト

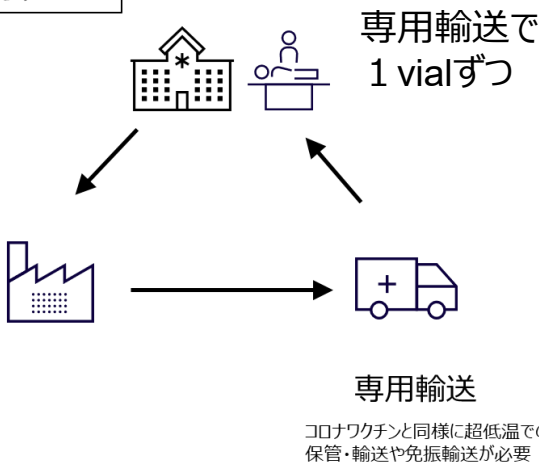


製造数量に応じて1製品当たりの固定費が減少するため、スケールメリットが生じる

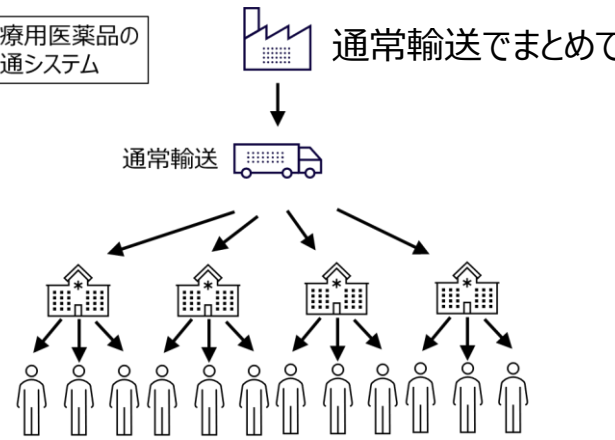
スケールアップのメリット

◆ 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



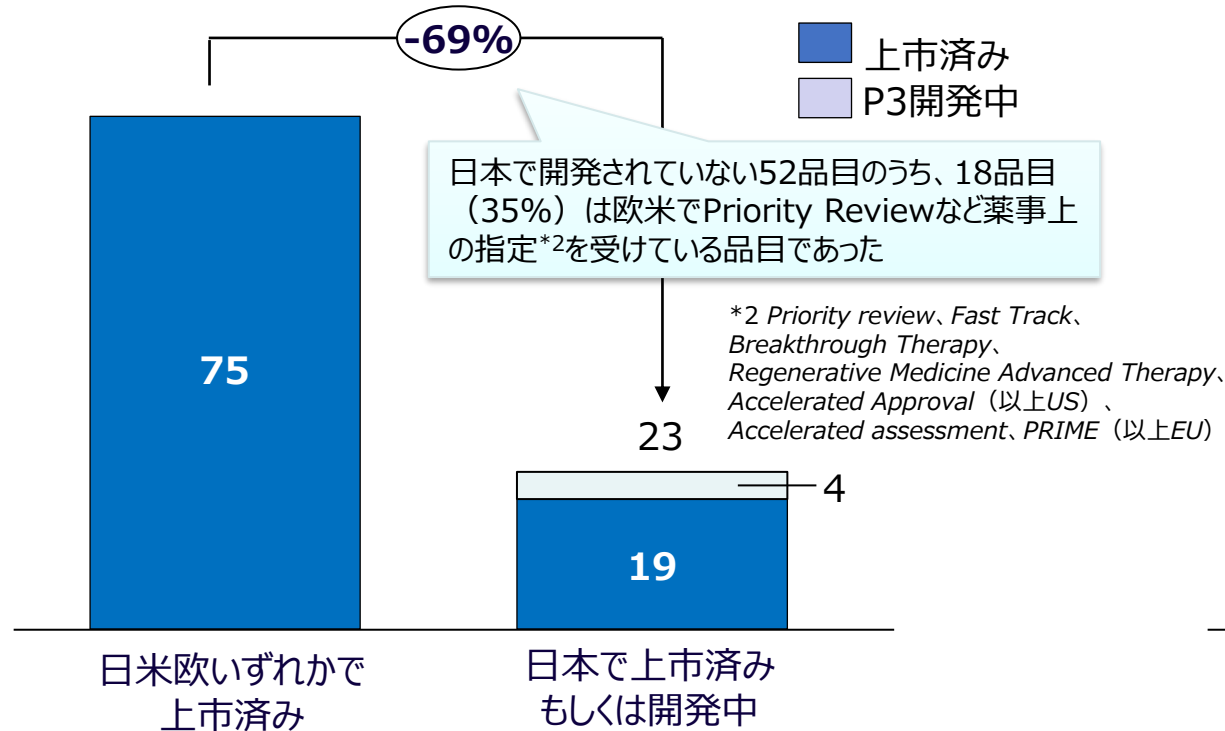
日米欧での再生医療等製品の上市・開発状況

- 日米欧既承認の再生医療等製品の内、69%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

2025年3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

2025年3月時点

パイプライン数

