



2021年8月24日

医薬品産業ビジョン策定に向けた官民対話

# 革新的再生医療等製品の創出に向けて

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

代表理事会長 富 賢一郎

# 革新的再生医療等製品創出に向けた現状の課題

- 適応症が希少疾患であることや患者さん自身の細胞を採取すること等を踏まえると、プラセボ対照試験を組むことが困難なケース多い

- ✓ 患者・疾患データの包括的収集の仕組みの検討
- ✓ レジストリ等を利用した治験実施に向け、産学官連携での取り組み



- 現在の生物由来原料基準やカルタヘナ対応には時間がかかることから、グローバル治験に日本が参加する障壁となり、ドラッグラグが再燃するリスクがある

- ✓ 諸外国との規制調和の推進および運用改善の検討



- 製品単価が高いとされるが、製造コストが高く適応症例数も少ない為、再生医療等製品で次の研究開発投資サイクルを回すことは困難である

- ✓ 製品価値を適切に価格へ反映する新たな仕組みの検討
- ✓ 再生医療の実状に則った品質管理のあり方の検討



# 医薬品産業ビジョン（案）を踏まえた今後の対応

## イノベーション創出に向けた研究開発環境の整備

目標：レギュラトリーサイエンスを基盤とした海外に比肩する環境の早期実現

論点	① 医療データの利活用の推進	② 再生医療に係る規制調和の推進
政府への期待	<ul style="list-style-type: none"> <li>リアルワールドデータの利活用に関し、具体的な課題※<sup>1</sup>解決に向けて継続支援頂きたい</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>グローバル治験への日本の参入障壁となる日本特有の規制※<sup>2</sup>は、速やかに運用改善及び規制改革を検討頂きたい</li> </ul>
業界の活動・展望	<ul style="list-style-type: none"> <li>官学と連携して課題の整理を行い、具体的な施策を共に検討していきたい</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>他団体と連携して現有の課題を整理し、課題解決に向け関係各課と相談の上で海外状況の調査等を実施していきたい</li> </ul>

※<sup>1</sup>：①治験対照群としてのレジストリの前向き研究の推進  
 ②電子カルテ情報の標準化等のデータ利活用基盤の整備  
 ③ライフサイエンス分野の個人情報に係る法制度の整備 等

※<sup>2</sup>：①生物由来原料基準に係るリスクベースドアプローチの検討  
 ②カルタヘナ法に係る大臣承認までの期間短縮等の運用改善の検討 等

# 医薬品産業ビジョン（案）を踏まえた今後の対応

## イノベーションの適切な評価

目標：再生医療等製品が有するイノベーティブな価値に対する適切な評価の実現

論点	① 製品価値を価格へ反映する新算定方式の構築
<b>政府への期待</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 再生医療等製品を含む革新的な製品については、現行の薬価算定にとらわれず、イノベーションを適切に評価しうる新たな算定方式の検討が必要</li> <li>➤ 多様性に富む再生医療等製品の承認審査を医薬品、医療機器等と分けた事で、前例にとらわれず審査が進んだように、薬価算定においても再生医療等製品を含むニューモダリティについては、医薬品、医療機器等と分けて新算定方式に関する議論を産官学で速やかに開始して頂きたい</li> </ul>
<b>業界の活動・展望</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 海外事例も参考に、再生医療等製品が持つ本質的な価値を価格に反映できる新方式に関する検討を推進し、他団体とも連携して新算定方式に係る議論の端緒を開きたい</li> </ul>

# 參考資料

# わが国の再生医療等製品の売上



\* : 各社のIR公開情報に基づき記載

販売名	適応症	上市年	償還価格	売上*
ジェイス	広範囲熱傷の治療	2007	一連につき50枚を限度として算定 (参考) 27枚 <b>8,618,000円</b>	2020年3月期 <b>9.1億円</b>
ジャック	外傷性軟骨欠損症、離断性骨軟骨炎の臨床症状緩和	2012	1治療あたり <b>2,165,000円</b>	2020年3月期 <b>4.2億円</b>
ハートシート	重症心不全の治療	2015	標準的使用方法(5枚) <b>15,030,000円</b>	非公表
テムセルHS注	急性移植片対宿主病(急性GVHD)の治療	2015	標準的使用方法(16バッグ) <b>14,156,272円</b>	2020年3月期 <b>31.3億円</b>
ステミラック注	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善	2018	1回分 <b>15,234,750円</b>	非公表
キムリア	急性リンパ芽球性白血病等	2019	1治療 <b>34,113,655円</b>	非公表
コラテジェン	慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善	2019	1治療分(2回投与) <b>1,222,956円</b>	2020年12月期 <b>0.4億円</b>
ゾルゲンスマ	脊髄性筋萎縮症の治療	2020	1患者あたり <b>167,077,222円</b>	2020年3月期 <b>発売前</b>
ネピック	角膜上皮幹細胞疲弊症の治療	2020	1患者あたり <b>9,750,000円</b>	2020年3月期 <b>発売前</b>

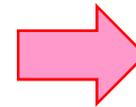
注) : イエスカルタ(第一三共)、プレヤンジ(BMS)は承認済であるが未掲載、キムリア(ノバルティス)の償還価格は5月現在

# 再生医療等製品を開発するための制度上の課題

## ◆ 諸外国で実施するもわが国で実施しにくい内容

### ➤ Randomized Control Trial (RCT)

- ー国民皆保険に起因する一般的事項
- ー再生医療等に特有の事項
  - ・ 組織採取/細胞調整等のプロセス実施
  - ・ 他に治療法がない医療という意味
  - ・ 評価手法が定まっていない



○リアルワールドデータの利活用  
○レギュラトリーサイエンスの発展

**再生医療等開発のための環境整備**

## ◆ 諸外国とわが国で運用が異なるとされている内容

### ➤ 生物由来原料基準などの原材料の基準および規格等

厚生労働省「革新的医療機器等国際標準獲得推進事業（2017-19年度）」の検討結果も踏まえ、速やかな運用改善及び見直しが必要。

### ➤ カルタヘナ対応

日本では治験開始前に詳細情報を要求されるため、グローバル試験に日本が参画する際の障壁となりかねず、運用改善及び見直しが必要。

# 再生医療等製品の特徴

## 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

## 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
- 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
- 製品化には、細胞培養等において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、高額な技術ライセンス料が必要である
- 製造施設・設備機器の転用が極めて困難である

# 再生医療等製品の原価計算方式における要望

➤ **再生医療等製品のコスト構造は医薬品とは異なり、原価計算方式で再生医療等製品に特徴的な経費については、すべて認めていただきたい。**

➤ **製品固有のコスト構造に対応した原価の課題**

- 再生医療等製品では、医薬品と同様の評価試験の実施、開発期間/費用、市販後の安全管理が求められている。また、**医薬品以上に品質の均一性に配慮が求められるが、費用が認められていない事例がある。**（例えば、製造過程ごとに高コストの工程内検査が課せられている。）
- 再生医療等製品の特徴的な費用は個々の製品によって大きく異なり、**特に製造設備は当該製品専用**である。しかしながら、製造に必要な設備費用が認められていない事例がある。
- 再生医療等製品の算定は医薬品の事例、特定保険医療材料の事例があるが、いずれの例に倣っても**再生医療等製品の供給に必要なコスト、製品の価値を十分に反映できないことがわかってきた。**

# 再生医療等製品のイノベーション評価に関する要望

➤ 再生医療等製品については、保険収載時には製品の特性上、限定的な評価しか得られなかった場合、保険収載後に追加エビデンスが得られた段階で再度評価できるような新たな仕組みを導入いただきたい。

- 再生医療等製品の使用対象患者は極めて少ないことから、臨床試験デザインや症例数設定において制限を受けざるを得ず、その結果、エビデンスレベル等の観点により保険収載時の評価が限定的となる場合がある。
- 再生医療等製品は、単回投与で長期間効果が持続するものが多いが、保険収載時には限られた試験期間における有効性データで評価されることなど、再生医療等製品が有する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い。
- 現行ルールでは収載後に再生医療等製品が有するイノベーションを適切に評価できる仕組みがあるとは言い難い。

# 再生医療等製品の価値を反映させるための新たな算定方式

- 再生医療等製品は、治療効果が長期に亘って持続する等、既存の治療概念を大きく変える可能性があるが、現状の算定方式ではこれらの多面的な価値を十分に価格に反映できない制度上の限界が存在する。
- 上記の点を踏まえ、製品固有の価値を企業自らが立証し、再生医療等製品が持つ本質的な価値を柔軟に価格に反映できる新方式を提案したい。

## 再生医療等製品の本質的な価値を柔軟に反映できる算定方式(イメージ)

