

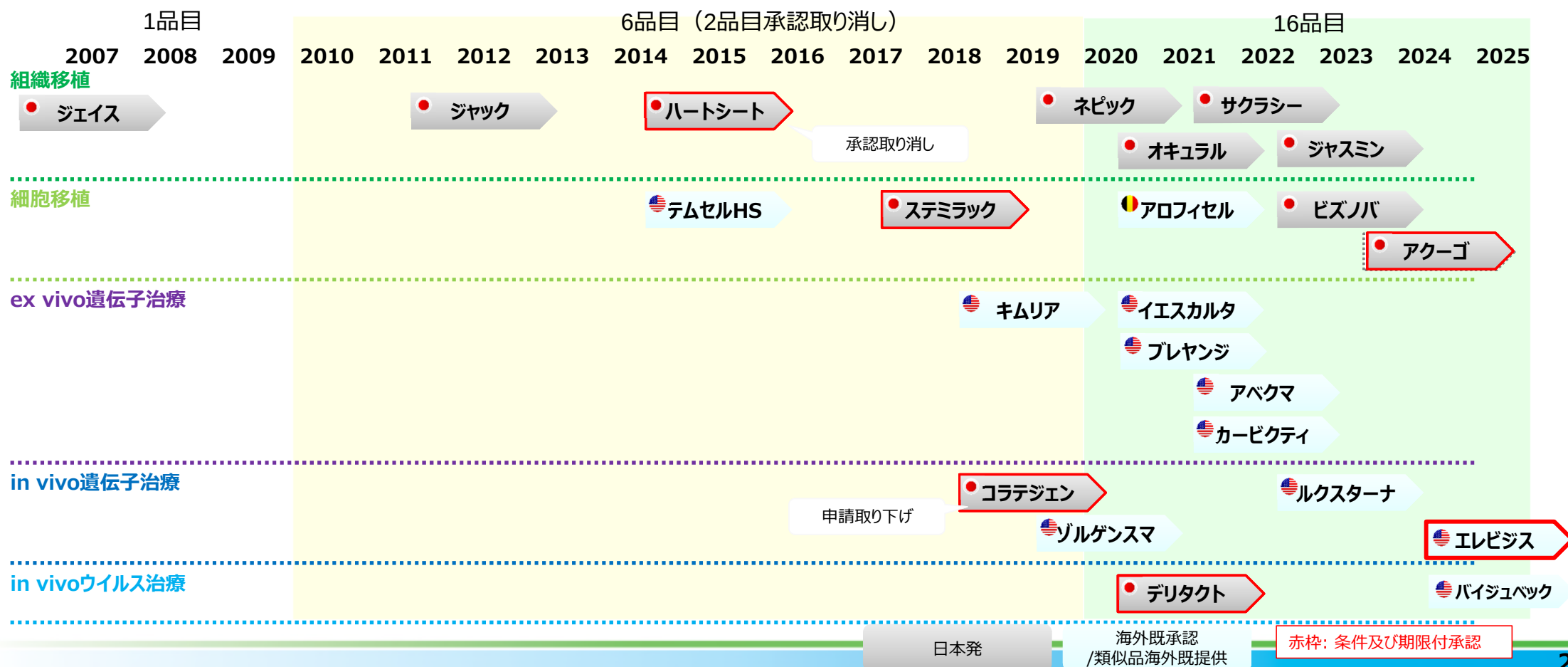
中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料

再生医療等製品の価格算定に関する意見

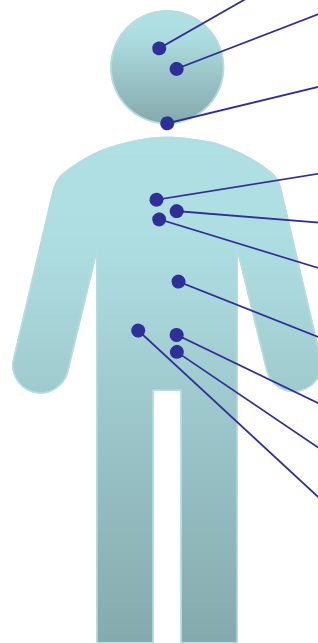
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）
2025年9月17日

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9月時点で21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



今後上市が想定されるiPS細胞由来の再生医療等製品



開発者等	移植細胞	対象疾患	開発状況
住友ファーマ/京都大学	ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病	承認申請
住友ファーマ/ヘリオス	網膜色素上皮細胞	網膜色素上皮裂孔	Phase 1/2
ブライトパス・バイオ/ 千葉大学・理化学研究所	NKT細胞	再発・進行頭頸部がん	Phase 1
ハートシード/ 慶応義塾大学	心筋細胞	虚血性心疾患に伴う 重症心不全	Phase 1/2
クオリプス/大阪大学	心筋細胞	虚血性心筋症による 重症心不全	承認申請
iHeart Japan	心血管系細胞多層体	拡張型心筋症	Phase 1/2
メガカリオン/京都大学 /CiRA-F	血小板	血小板減少症	Phase 1/2
順天堂大学	細胞障害性T細胞	HPV16型陽性子宮頸がん	Phase 1
国立がん研究センター/ 京都大学	NK細胞	卵巣がん	Phase 1
オリヅルセラピューティクス/ 京都大学	膵島細胞	重症I型糖尿病	Phase 1/1b

出典: 国立医薬品食品衛生研究所, 各開発者等website, 臨床試験サイト (ClinicalTrials.gov, jRCT) 2025年9月時点の公開情報

- ## ＜細胞医療＞

一回の投与



**既存治療
では治療が困難*1**



遺伝子細胞治療での
治療後10年経っても再発無し*1

Overall Survival

5-year OS: 55% (95% CI, 43%-66%)

Event-Free Probability (%)

Time (Months)

Censoring times
All patients (N=79)

Number of events (n)
Patients: 33

Kaplan-Meier medians
All patients: NE months; 95% CI [46-NE]

Number of patients still at risk

79 73 70 66 60 53 51 41 40 45 43 43 43 43 41 37 36 34 30 30 5 3

- ✓ 小児ALL対象のPh2試験開始から約10年が経過している（最長15年フォロー）
- ✓ 上市から6年経過、市販後データが得られている
- 投与直後に有効性が得られた患者に対し、長期間に渡る有効性（生存、無再発など）、良好な安全性プロファイルが示されている

ALL: Acute lymphoblastic leukemia (急性リンパ性白血病)

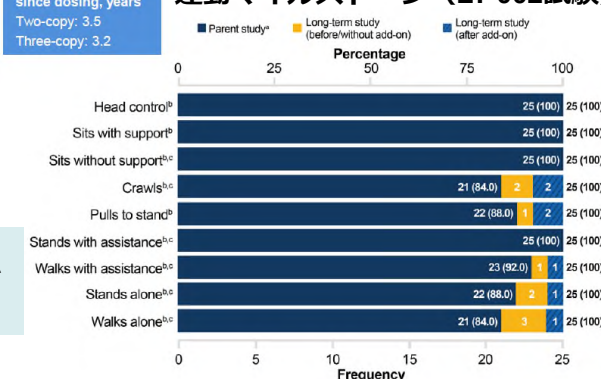
＜遺伝子治療＞

一回の投与



乳児型の場合、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
歩行が可能な方も*3

Mean follow-up time since dosing, years



- ✓ 試験開始からPh1試験は約10年、Ph3試験は約7年が経過している（最長15年フォロー）
- ✓ 上市から5年経過、市販後データが得られている
- ・ 持続的な有効性（獲得した運動マイルストーンの維持及び新たな獲得）、良好な安全性プロファイルが示されている

24 of 25 (96%) patients achieved the motor milestone of walking alone before or without add-on therapy^{1,2}



SMA: Spinal Muscular Atrophy (脊髓性筋萎縮症)

*4 出典 : Anne M. Connolly et al. MDA 2023, poster P153

令和8年度 薬価制度改革に向けた課題と希望

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

長期にわたり患者を観察した臨床試験データに基づく価格算定

- 最終段階の臨床試験のみならず、Phase1やPhase2、継続試験データ等も用いるといった運用の明確化

➤ 補正加算

無治療期間の提供を評価する、有用性系加算要件の新設

- 利便性の向上とは異なる評価の在り方

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の調整の廃止

- 単回の価格や市場規模予測のみに着目した調整の廃止

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

再生医療等製品特有のコストを踏まえた算定

➤ 市場拡大再算定の対象からの除外

複雑な製造、個別化製造を踏まえた対応

- 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が困難

再生医療等製品の特長・特徴を踏まえた価格算定について

新たな価格制度について産官学での検討の場

令和8年度改定に向けた現行算定方式の改善

Appendix

- 令和6年度改定に向けて -

原価計算方式の課題とその対応について（1/2）

中医協薬 - 2
5. 9. 20 より



- 新規技術を用い、治療方法のない領域の場合、原価計算方式での算定方式になりやすく、下記の課題が生じている
- これらの課題を踏まえた、原価計算方式の運用が必要であるとする

項目名		課題	再生医療等 製品の課題	バイオ医薬品 等を含む課題
製造原価	① 原料費	1 品質の均質性が求められる		
	容器包装材料費			
	② 労務費			
	エネルギー	2 製造部門の人材水準が高く人件費が高い		
	③ 設備償却費			
	消耗品他			
	仕損費			
一般管理/販売費	3 独自の設備投資が必要			
研究開発費 (基礎/臨床/PMS)				
ロイヤリティ				
営業利益				
流通経費				
消費税				

- 遺伝子や生きた細胞、組織（凍結保存も含む）を製品として使用するため、製品の安全性の観点から製造過程で製品毎に多様な品質保証試験が課されているが、費用として認められない場合がある
- 総製造量に対して検査用製品や参考品の割合が高いが、その一部が費用として認められない場合がある

- 製造プロセスの複雑性が高いため、高度技術を持つ人材が必要がある
- 平均労務単価で労務費を算出すると実際費用から大きく乖離する
- 製造従事時間のみでなく、人材の育成、雇用の維持費用も必要がある

- 製造設備は当該製品専用であり転用が極めて困難であるが、製造に必要な設備費用が認められていない事例がある
- 一つの製品を単一の企業で研究・開発・製造するのは難しく、周辺産業からの原材料・試薬供給やCMOとの協働が不可欠であり、その委託費用が発生する

- 令和6年度改定に向けて -

原価計算方式の課題とその対応について（2/2）

中 医 協 薬 - 2
5 . 9 . 2 0 より



- 新規技術を用い、治療方法のない領域の場合、原価計算方式での算定方式になりやすく、下記の課題が生じている
- これらの課題を踏まえた、原価計算方式の運用が必要であるとする

項目名		課題	再生医療等 製品の課題	バイオ医薬品 等を含む課題
製造原価	原料費	4 製造の不確実性 に起因する損失が企業の 持ち出しになる		
	容器包装材料費			
	労務費			
	エネルギー			
	設備償却費			
⑤ 一般管理 販売費	消耗品他	5 高額な特許維持費や ライセンス料が必要		
	④ 仕損費			
	一般管理/販売費			
	研究開発費 (基礎/臨床/PMS)			
	ロイヤリティ			
⑥	営業利益	6 主に自家細胞製品で 重い流通インフラ投資が 反映されない		
	流通経費			
	消費税			

- 同一製造条件であっても品質がばらつく傾向（特に自家細胞系）にあるが、損失が生じた場合、企業が負担せざるを得ない

- 再生医療等製品は低分子医薬品と異なり、一つの製品に自社特許に限らず複数の特許から成り立っている場合が多い
- 特許維持費、特許ライセンス料等が低分子医薬品よりも高額になる
- アカデミアやベンチャーが製品のオリジネーターであることが多いが、そのライセンス料が十分に認められていない
- 臨床試験はCROへの委託を行うことが一般的であるが、実際にCROに支払った費用は認められない

- 製品毎に流通特徴が異なる（特に自家細胞系の流通）
- 流通経費に実費が反映されておらず製造原価の高低に依存している