

再生医療等製品の保険償還価格の算定について

類 別		遺伝子治療用製品（ウイルスベクター製品）		
成 分 名		ベレマゲン ゲペルパベク		
収 載 希 望 者		K r y s t a l B i o t e c h J a p a n（株）		
販 売 名 （規格単位）		バイジュベックゲル（2瓶1組※） ※2瓶1組あたり、投与の最大液量2mLを採取するに足る量が充填されている		
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能		栄養障害型表皮水疱症		
主な用法・用量 又は使用方法		通常、週1回、本品の液滴を約1cm×1cmの格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。 創傷面積1cm ² あたりの投与量は2×10 ⁷ PFU（10μL）を目安とする。 本品の1週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。		
		年齢	1週あたりの最大用量 （プラーク形成単位：PFU）	
		3歳未満	2×10 ⁹	
		3歳以上	4×10 ⁹	
		1週あたりの最大液量（mL） ^{注)}		
		1	2	
		注) 製剤とHPMCゲルを混合した後の液量		
算 定	算 定 方 式	原価計算方式		
	原 価 計 算	製品総原価	2, 1 2 9, 4 5 7. 5 0 円	
		営 業 利 益	3 9 9, 5 8 9. 4 0 円 (流通経費を除く価格の1. 1 5 %)	
		流 通 経 費	1 5 7, 5 2 8. 3 0 円 (消費税を除く価格の5. 9 %)	
		出典：「医薬品産業実態調査報告書」（厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課）		
		消 費 税	2 6 8, 6 5 7. 5 0 円	
	補 正 加 算	有用性加算（I）（A＝5 0 %）、市場性加算（I）（A＝1 5 %） 加算係数 0 (加算前) (加算後) 2 瓶 1 組 2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円 → 2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円		
	外 国 平 均 価 格 調 整	なし		
算 定 薬 価	2 瓶 1 組 2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円			
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測		
2 瓶 1 組 米国(ASP) 25,928.00 ドル 3, 8 8 9, 2 0 0. 0 0 円 外国平均価格 3, 8 8 9, 2 0 0. 0 0 円 (参考) 2 瓶 1 組 米国(WAC) 25,230.00 ドル 3, 7 8 4, 5 0 0. 0 0 円 (注) 為替レートは令和6年9月～令和7年8月の平均 最初に承認された国（年月）： 米国（2 0 2 3 年 5 月）		予測年度	予測本剤投与患者 数	予測販売金額
		（ピーク時） 8 年度	3 0 6 人	1 8 1 億円
製 造 販 売 承 認 日		令和7年7月24日	薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		原価計算方式		第一回算定組織	令和7年9月16日
原価計算方式を採用する妥当性		新 薬			類似薬がない根拠
	成分名	ベレマゲン ゲペルパベク			本剤は「栄養型表皮水疱症」を効能・効果とする初めての遺伝子治療薬であり、新薬算定類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	栄養障害型表皮水疱症			
	ロ. 薬理作用	COL7A1遺伝子補充作用			
	ハ. 組成及び化学構造	ヒトCOL7タンパク質を発現する遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型を主構成体、HPMCゲルを副構成体とする。			
	ニ. 投与形態 剤形 用法	外用 ゲル剤 週に1回滴下塗布			
補正加算	画期性加算 (70～120%)	該当しない			
	有用性加算（Ⅰ） (35～60%)	該当する（A＝50%） 〔イ. 新規作用機序（異なる作用点、重篤な疾病を対象）：①－a, ①－c＝2p〕 〔ハ. 治療方法の改善（不十分例、利便性）：③－a, ③－c＝2p〕 本剤は既収載品と異なる作用機序を有し、標準的な治療法が確立されていない重篤な疾患を対象とすること、既存治療では効果が不十分な患者において効果が認められ、既存の治療法と比較して使用に際する利便性が高いことから、有用性加算（Ⅰ）（A＝50%）を適用することが適当と判断した。			
	有用性加算（Ⅱ） (5～30%)	該当しない			
	市場性加算（Ⅰ） (10～20%)	該当する（A＝15%） 本剤は希少疾病用医薬品に指定されていることから、加算の要件を満たす。また、患者数が限定的である中、国内第Ⅲ相試験を実施したことを踏まえ、A＝15%が妥当と判断した。			
	市場性加算（Ⅱ） (5%)	該当しない			
	特定用途加算 (5～20%)	該当しない			
	小児加算 (5～20%)	該当しない			
	先駆加算 (10～20%)	該当しない			
	迅速導入加算 (5～10%)	該当しない			
	新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当する（主な理由：希少疾病用医薬品として指定）		
費用対効果評価への 該当性		該当しない			
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不服意見の要点					
上記不服意見に 対する見解		第二回算定組織		令和 年 月 日	

製品概要

販売名	バイジュベックゲル									
使用目的	本品は、栄養障害型表皮水疱症（DEB）の原因遺伝子であるヒト COL7A1 遺伝子を搭載した非増殖性組換え単純ヘルペスウイルス 1 型（HSV-1）を成分とする再生医療等製品である。 患者の創傷部位に塗布された本品が真皮のヒト皮膚線維芽細胞及び表皮のヒトケラチノサイトに感染することにより、本品のウイルスゲノムは細胞の核内にエピソードとして留まるとともに、ヒト皮膚線維芽細胞及びヒトケラチノサイトにおいて機能的な COL7 タンパク質を発現する。発現した COL7 タンパク質により、アンカリングフィブリルが形成され、表皮と真皮が繋ぎ止められることで、DEB 患者の創傷を治癒する効果が期待される。									
主な使用方法	【用法及び用量又は使用方法】 通常、週 1 回、本品の液滴を約 1cm×1cm の格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。創傷面積 1cm² あたりの投与量は 2×10⁷ PFU(10μL) を目安とする。 本品の 1 週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。 <table><tr><th>年齢</th><th>1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)</th><th>1 週あたりの最大液量 (mL) 注)</th></tr><tr><td>3 歳未満</td><td>2×10⁹</td><td>1</td></tr><tr><td>3 歳以上</td><td>4×10⁹</td><td>2</td></tr></table> 注) 製剤と HPMC ゲルを混合した後の液量	年齢	1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)	1 週あたりの最大液量 (mL) 注)	3 歳未満	2×10 ⁹	1	3 歳以上	4×10 ⁹	2
年齢	1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)	1 週あたりの最大液量 (mL) 注)								
3 歳未満	2×10 ⁹	1								
3 歳以上	4×10 ⁹	2								
主な有用性	本品は DEB に対して、海外第Ⅲ相試験である B-VEC-03 試験及び B-VEC-EX-02 試験、並びに国内第Ⅲ相試験である B-VEC-EX-02-JP 試験において有効性を示した。 遺伝子検査により DEB と確定診断された 6 ヶ月齢以上の DEB 患者 31 例を対象としたプラセボ対照患者内無作為化二重盲検比較試験である、海外 B-VEC-03 試験において、主要評価項目である初回投与後 6 カ月における完全治癒した一次創傷の割合（初回投与後 22 及び 24 週又は 24 及び 26 週の 2 回の visit で連続して完全閉鎖^{注1)}と判断された割合）は、本品投与創傷で 67.4%（31 例）、プラセボ投与創傷で 21.6%（31 例）で、本品投与創傷とプラセボ投与創傷の間に統計的に有意な差が認められた（p=0.0019）。 海外 B-VEC-03 試験に参加した患者（継続患者）24 例、及び海外第Ⅲ相試験に参加していない、遺伝子検査により DEB と確定診断された患者（新規患者）23 例、計 47 例を対象とした非盲検非対照長期継続投与試験である B-VEC-EX-02 試験において、継続患者 24 例のうち、創傷の評価のための visit の不足により有効性評価が困難であった 5 例を除く 19 例では、B-VEC-03 試験の 3 カ月後及び 6 カ月後で観察された割合と同程度の長期間の奏効維持が認められた。 遺伝子検査により DEB と確定診断された 2 ヶ月齢以上の日本人 DEB 患者 5 例を対象とした国内 B-VEC-EX-02-JP 試験において、同意撤回 1 例を除く 4 例の本品投与後 6 カ月における一次創傷の完全閉鎖^{注1)}率は 100%であった。 注 1) 海外 B-VEC-03 試験、海外 B-VEC-EX-02 試験及び国内 B-VEC-EX-02-JP 試験においては、創傷表面積がベースラインから 100%減少し、排液のない皮膚の再上皮化が認められた場合を「完全閉鎖」、2 回の visit で連続して完全閉鎖と判断された場合を「完全治癒」と定義された。									
承認条件	1. 製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に製造販売後調査等を実施すること。 2. DEB に関する十分な知識・経験を持つ医師のもと、有害事象の管理等の適切な対応がなされる体制下で、本品の使用方法等に係る知識を十分に習得した者が本品を使用するよう必要な措置を講ずること。 3. 「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）」に基づき承認された第一種使用規程を遵守して本品を用いるよう、その使用規程の周知等、必要な措置を講ずること。									