

# 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

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 畠 賢一郎

# 1. 再生医療等製品の特徴

## 2. 再生医療等製品の価格に関する現在の課題とあるべき姿

## 3. 成長戦略としての再生医療

# 再生医療等製品とは

- ◆ これまでの医薬品は低分子医薬品や抗体医薬などのバイオ医薬品が主流であったが、近年、科学技術の進歩によって細胞、ウイルス、遺伝子などで治療ができる疾患が解明されてきており、**新たな革新的な治療手段として、細胞医療や遺伝子治療といった再生医療等製品が実用化**され始めている

## 革新的技術を活用した モダリティ\*の多様化



モダリティ\*の多様化により、新たな治療選択肢を提供

\*治療手段（創薬技術・手法）

出典：製薬協会長記者会見資料 2022年1月 一部改変

- ✓ **再生・細胞医療**：細胞を用いて、損なわれた身体の機能の回復や病気の状態の改善を目指す治療法
- ✓ **遺伝子治療**：細胞の中にある遺伝子を補充あるいは調節して、病気の回復を目指す治療法

再生医療等製品は、**既存の医薬品では治療困難な領域の疾患に対して新たな治療手段を提供する**

# 再生医療等製品の特徴：モダリティの多様性

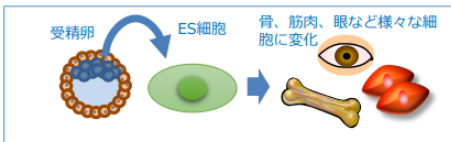
- 本邦で承認された再生医療等製品は17品目、うち、この2年間で8品目が承認されている。
- また、再生医療等製品のモダリティは多様である。

## 組織・細胞の分類

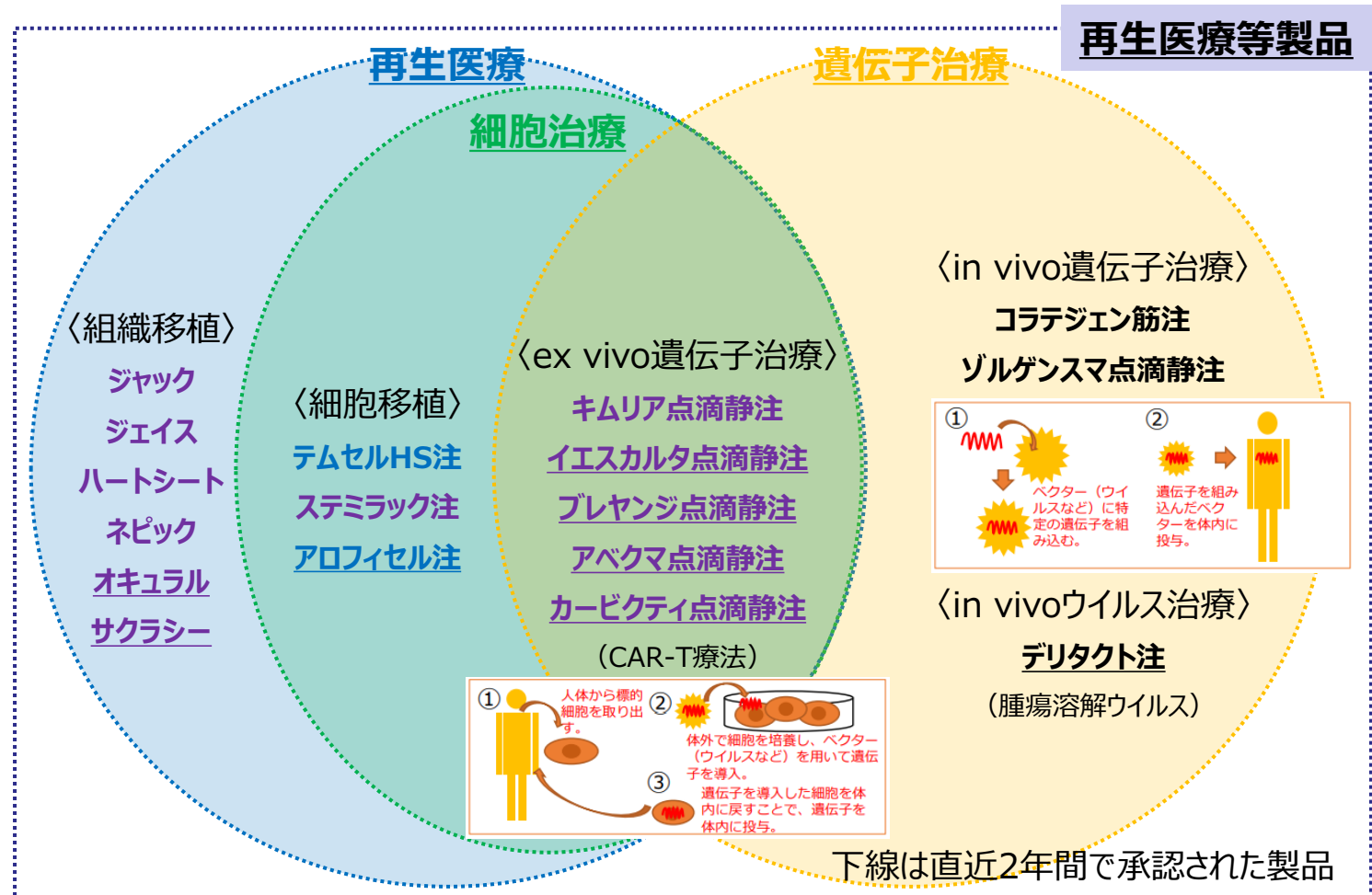
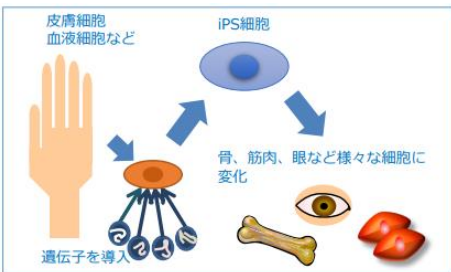
組織幹細胞（自家） / 組織幹細胞（他家）



## ES細胞



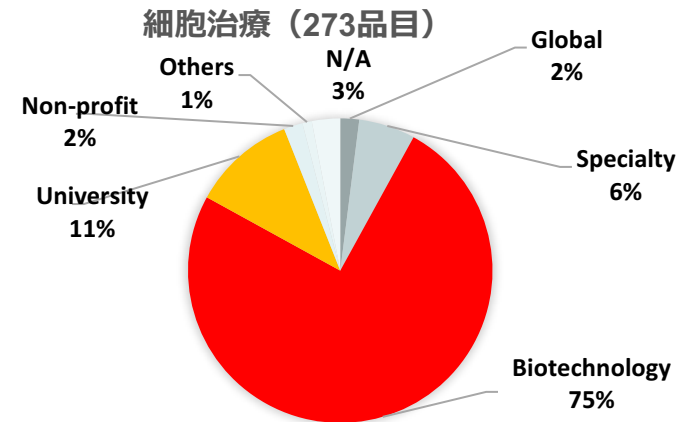
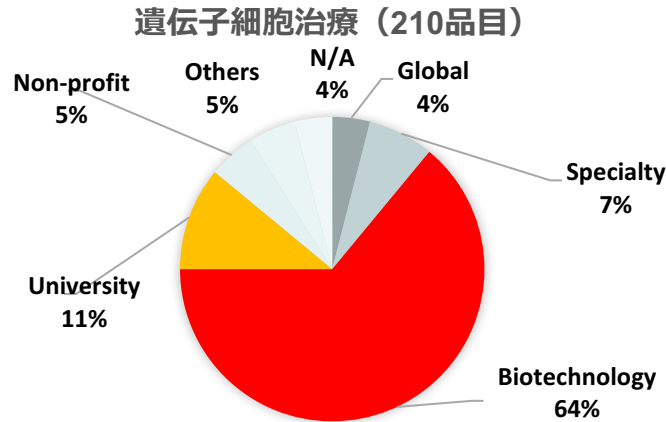
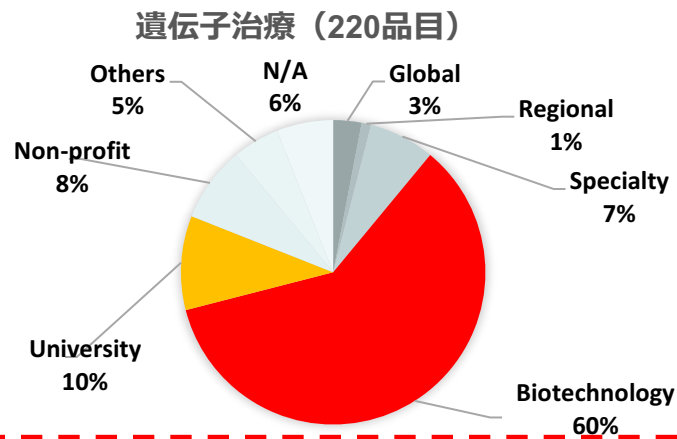
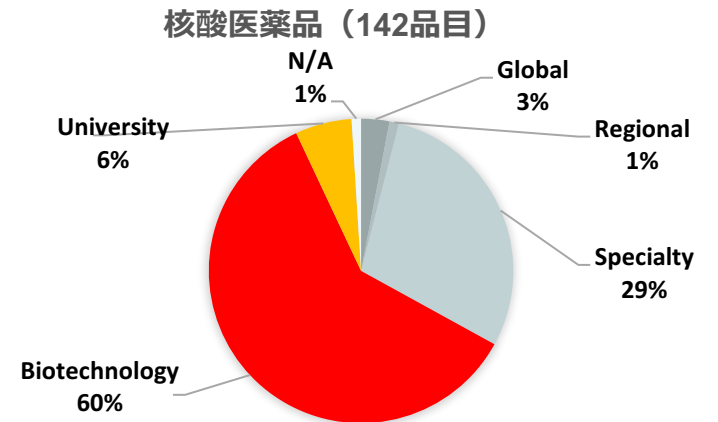
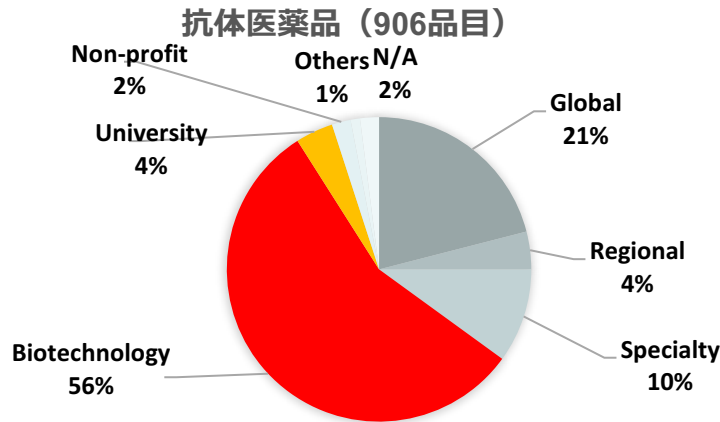
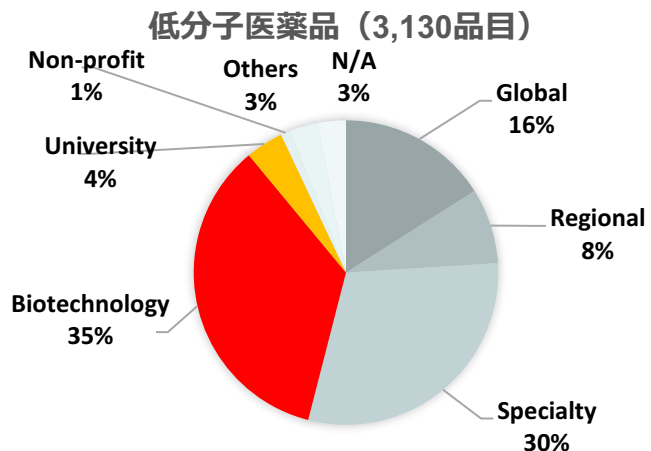
## iPS細胞（自家） / iPS細胞（他家）



# 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：%)



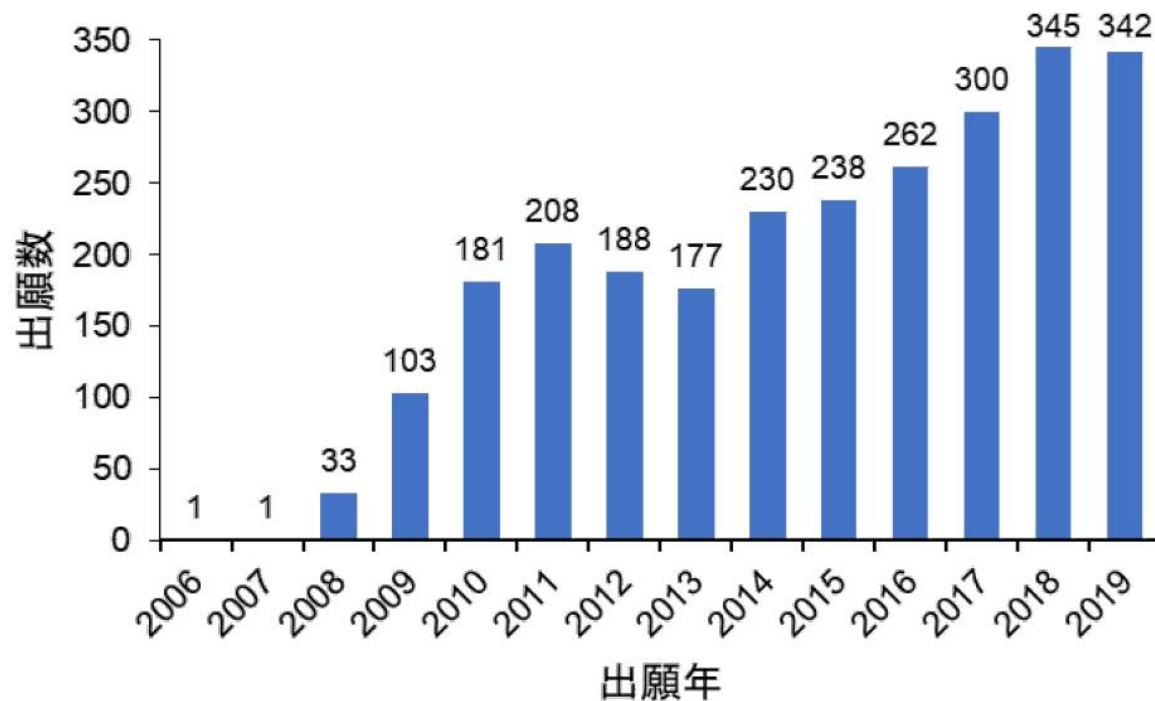
# 多能性幹細胞利用再生医療の臨床試験状況

- 多能性幹細胞（ES細胞／iPS細胞）を利用した臨床試験は、国際的に増加傾向にある。
- うち、iPS細胞については、引き続き日本が1位に位置するものの、世界各国も追いついてきている。

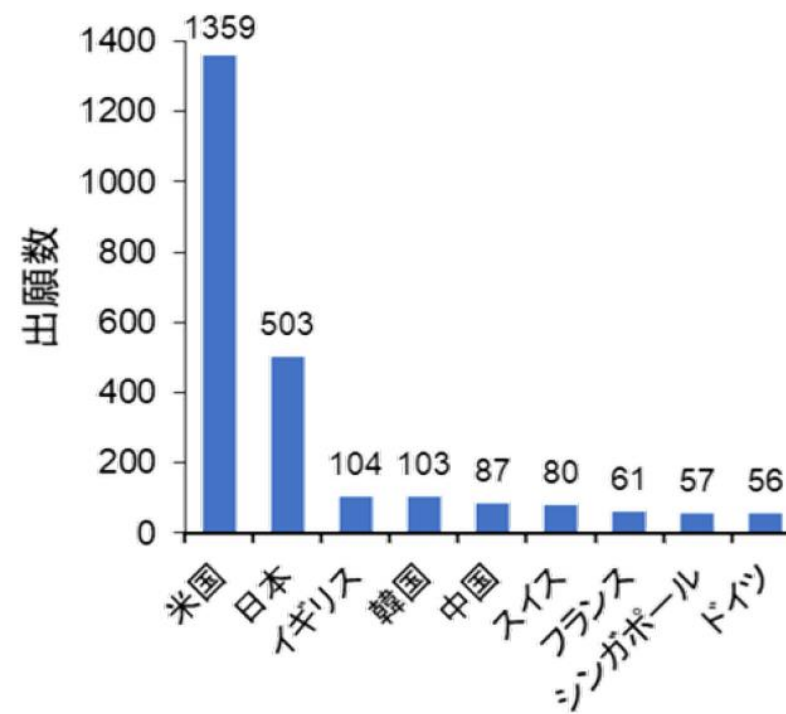
国名	臨床試験の累積数 (2018年→2021年)	うちES細胞	うちiPS細胞
<b>全世界合計</b>	<b>31 → 63</b>	<b>24 → 35</b>	<b>4 → 28</b>
主要国内訳			
アメリカ	10 → 21	10 → 12	0 → 9
<b>日本</b>	4 → 12	1 → 1	<b>3 → 11</b>
中国	4 → 13	4 → 10	0 → 3
英国	4 → 5	3 → 3	1 → 2
韓国	3 → 5	3 → 5	0 → 0
オーストラリア	0 → 3	0 → 0	0 → 3
ドイツ	0 → 1	0 → 0	0 → 1

# 特許の状況（iPS細胞）

- iPS細胞研究の国際的な特許出願動向は、近年においても増加傾向にある。
- PCT（特許協力条約）に基づく特許出願のうち、**iPS細胞については、日本が世界2位**に位置。



特許出願数年次推移



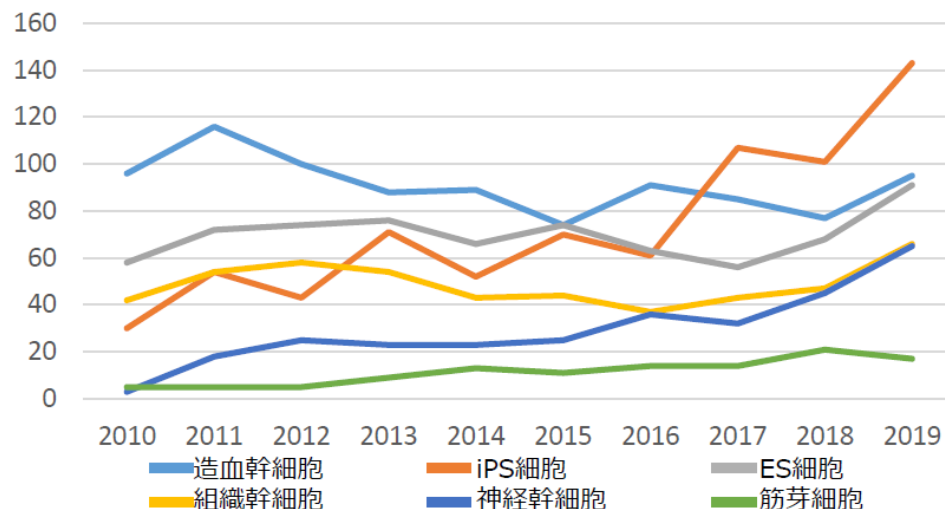
出願人国籍別出願数

# 論文の状況（再生・細胞医療・遺伝子治療）

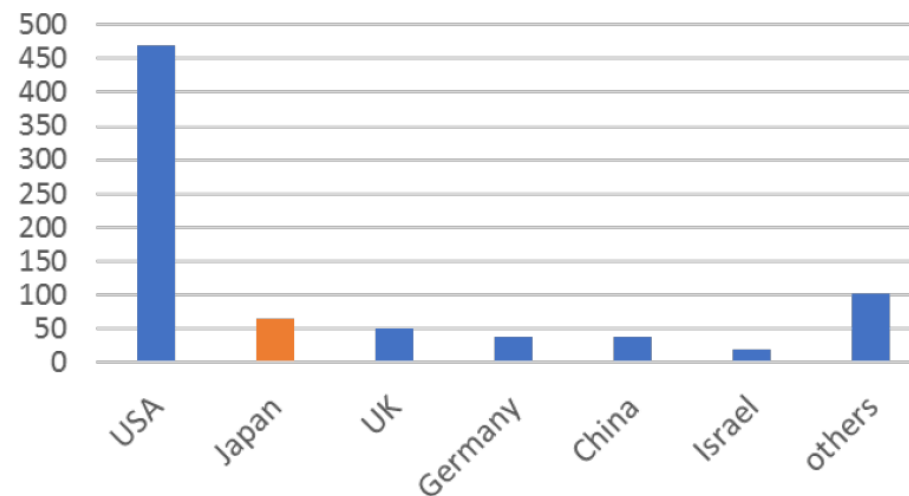
- 再生医療（幹細胞）研究の国際的な論文動向では、近年、iPS細胞に関する論文数が急増。
- 幹細胞研究に関する高IF論文のうち、iPS細胞については、日本が世界2位に位置。

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より抜粋

幹細胞 細胞型別 IF>11.5論文数 年推移



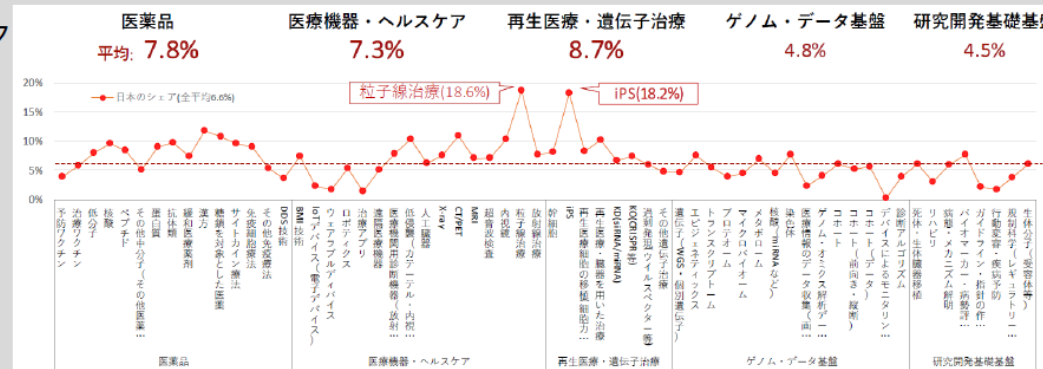
iPS細胞 国別 IF>11.5 論文数 (2010-2020年)



【参考】健康・医療分野における我が国の論文数シェア (モダリティ別)

- 全分野平均 6.6%
- うち、再生医療・遺伝子治療 8.7%
- うち、iPS細胞 18.2%

2020.9.2 第1回 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料より抜粋





# 再生医療等製品の医療への貢献（1：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

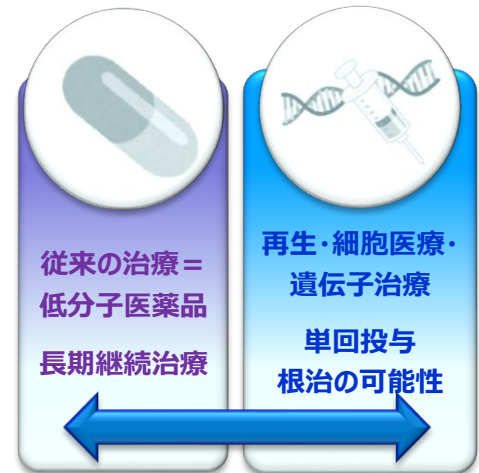


バルティス ファーマ株式会社提供



Source : Emily Whitehead Foundation

[New Cancer Cure: World's First Child Treated with Immunotherapy Is Cancer-free 10 Years Later - YouTube](#)



- 患者さん自身の膝軟骨細胞から作る「自家培養軟骨」移植により、膝関節軟骨欠損が原因で痛くて歩行に支障のある患者さんが普通に歩けるようになる
- 自家培養軟骨のような手術手技を伴う再生医療等製品は、手技の熟練度や改善により、その治療効果のさらなる向上が期待される
- 自家培養軟骨は、市販後の調査（7年間）がすでに終了し、再審査の結果、承認当初の「効能、効果又は性能」があらためて確認された。当初治療を受けた患者さんはすでに10年近くたっているが、その効果が維持され普段の生活がおくれている



# 国民に提供しうる再生医療等製品の価値

## 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

## 病気の治療・治癒

介護負担減 / 生産性損失改善

医療負担 / 医療費総額削減

患者さんへの臨床的価値（病気の治療・治癒）のみならず、介護などの社会負担の軽減や将来的な医療費負担軽減削減の可能性など多様な社会的価値が期待される

# 再生医療等製品の特徴：産業構造における多様性

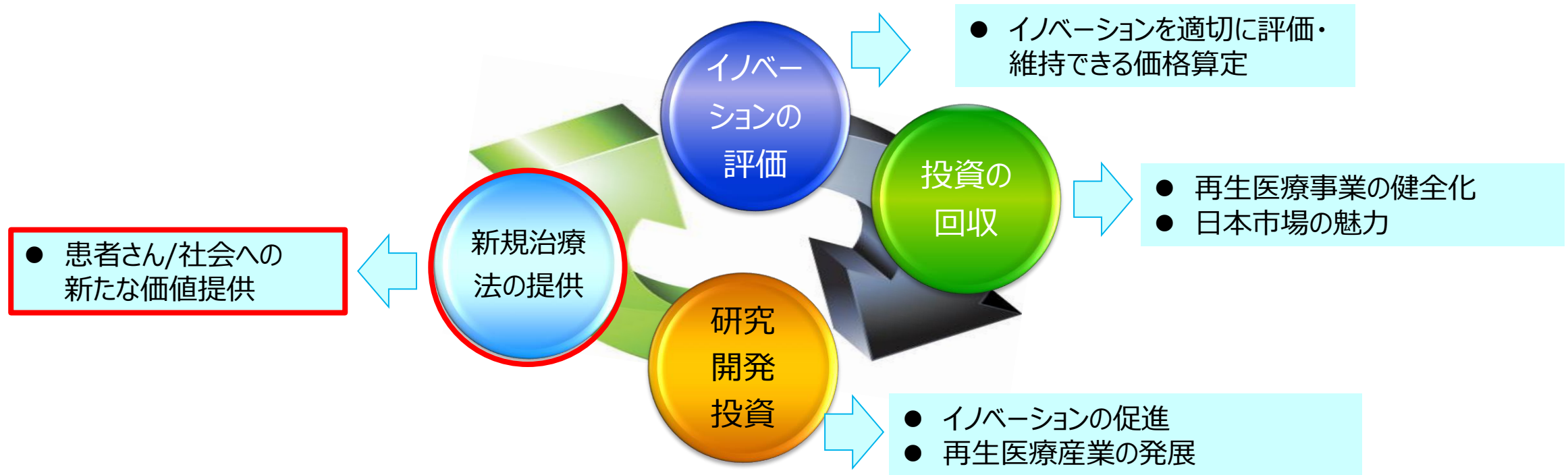
- 再生医療等製品が患者さんに届くまで、**アカデミアや多くの周辺産業との連携**が必要

## 再生医療等製品のバリューチェーン



1. 再生医療等製品の特徴
- 2. 再生医療等製品の価格に関する現在の課題とあるべき姿**
3. 成長戦略としての再生医療

# 再生医療等製品の研究開発サイクル

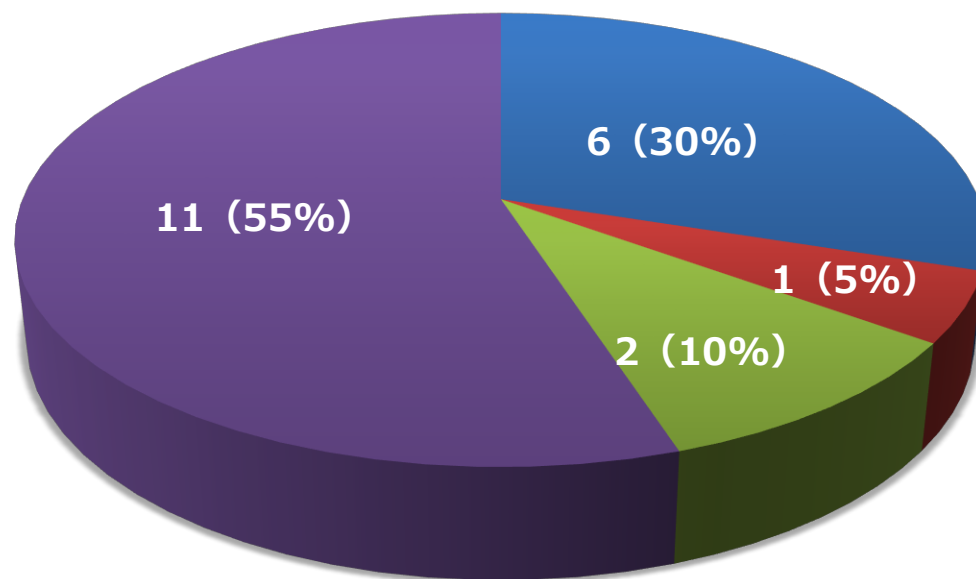


イノベティブな治療を患者さんに届け、社会に新たな価値を継続的に提供するためには、このサイクルを回し続ける必要がある

# 欧米既承認 再生医療等製品の国内開発・承認状況

- 欧米既承認の再生医療等製品の内、50～60%は本邦では開発されていない。
- 承認されている6品目のドラッグラグは約1.3年（中央値）であり、PMDA公表値（0.7年）よりも大きい\*。

## 欧米上市品目（2014年～）の国内状況



■ 上市済 ■ 承認申請中 ■ 開発中 ■ 情報なし

\* 令和2年度PMDAのドラッグラグ試算  
(医薬品を含む中央値)

開発ラグ：0.5年

審査ラグ：0.2年

ドラッグラグ：0.7年

出典：PMDA HP <https://www.pmda.go.jp/files/000244384.pdf>

薬機法上再生医療等製品が制定された2014年以降を調査対象とした。  
現在市場から撤退している欧州のみ承認の2品目（Skysona、Zalmoxis）は対象外とした。  
出所：Clinicaltrial.gov、FDA、EMAのHPよりFIRMで作成（2022年8月時点）

# 再生医療等製品の海外価格との比較

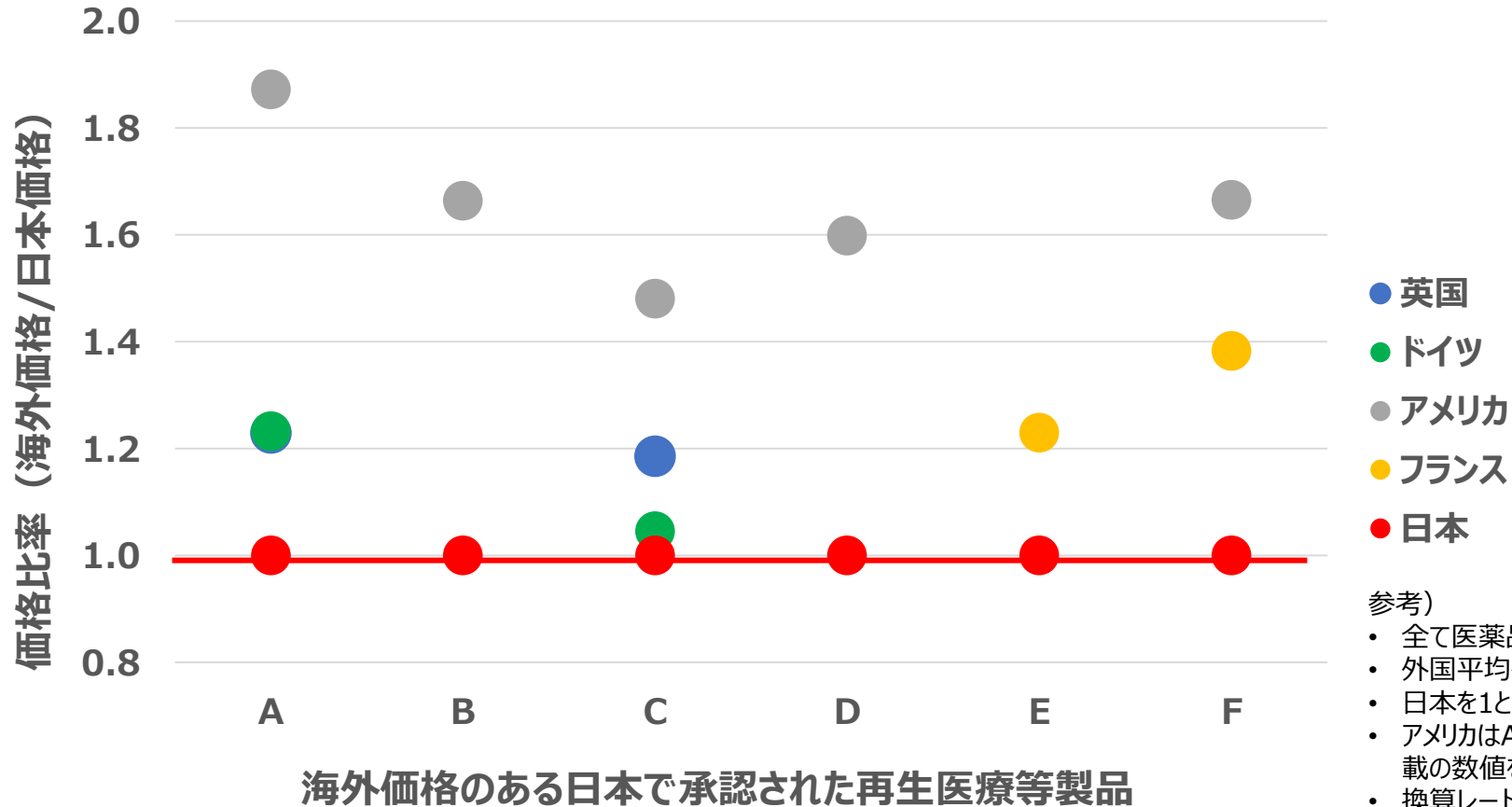
欧米と比較して、日本の価格が  
一番低く算定されている



日本で新薬創出の魅力が低下し、  
優先度が下がる可能性がある



革新的な再生医療等製品が患  
者さんのもとに届きにくくなる





# 再生医療等製品と既存の医薬品との違い

項目		再生医療等製品	低分子医薬品・バイオ医薬品
研究・開発・製造	製造	<ul style="list-style-type: none"> <li>モダリティが多様で<b>専用設備</b>が必要</li> <li>多くの周辺産業との連携が必要</li> <li><b>大量生産できず</b>スケールメリットが得難い</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>設備を同じモダリティに<b>流用可能</b></li> <li>限られた特定の産業（化学・バイオ）</li> <li><b>大量生産可能</b>で工業的</li> </ul>
	品質	<ul style="list-style-type: none"> <li>細胞や遺伝子の均質化が困難</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>均質化が容易</li> </ul>
	人材	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>豊富</li> </ul>
	特許	<ul style="list-style-type: none"> <li>多くの特許の組み合わせ（ライセンス料が増加）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>物質特許で保護</li> </ul>
	規制	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>ICHでカバーされない</b></li> <li><b>日本の規制</b>（生原基、カルタヘナ）が障壁</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>ICHにより<b>国際的に調和</b></li> </ul>
流通・市場	輸送	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>専用の輸送</b>が必要</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>通常設備</b>で輸送可能</li> </ul>
	患者規模	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>希少疾患</b>を含め比較的小さい</li> <li>自家細胞は<b>個別化医療</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>生活習慣病を含め比較的大きい</li> </ul>
	医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>専門施設に限定</li> <li><b>医師の手技に依存する製品もある</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>広く使用</li> </ul>

注：バイオ医薬品などで生じる問題も一部含む

# 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に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医協で検討するとされている（2014.11.5 中医協総会 2-1）

1. 再生医療等製品の特徴
2. 再生医療等製品の価格に関する現在の課題とあるべき姿
3. **成長戦略としての再生医療**

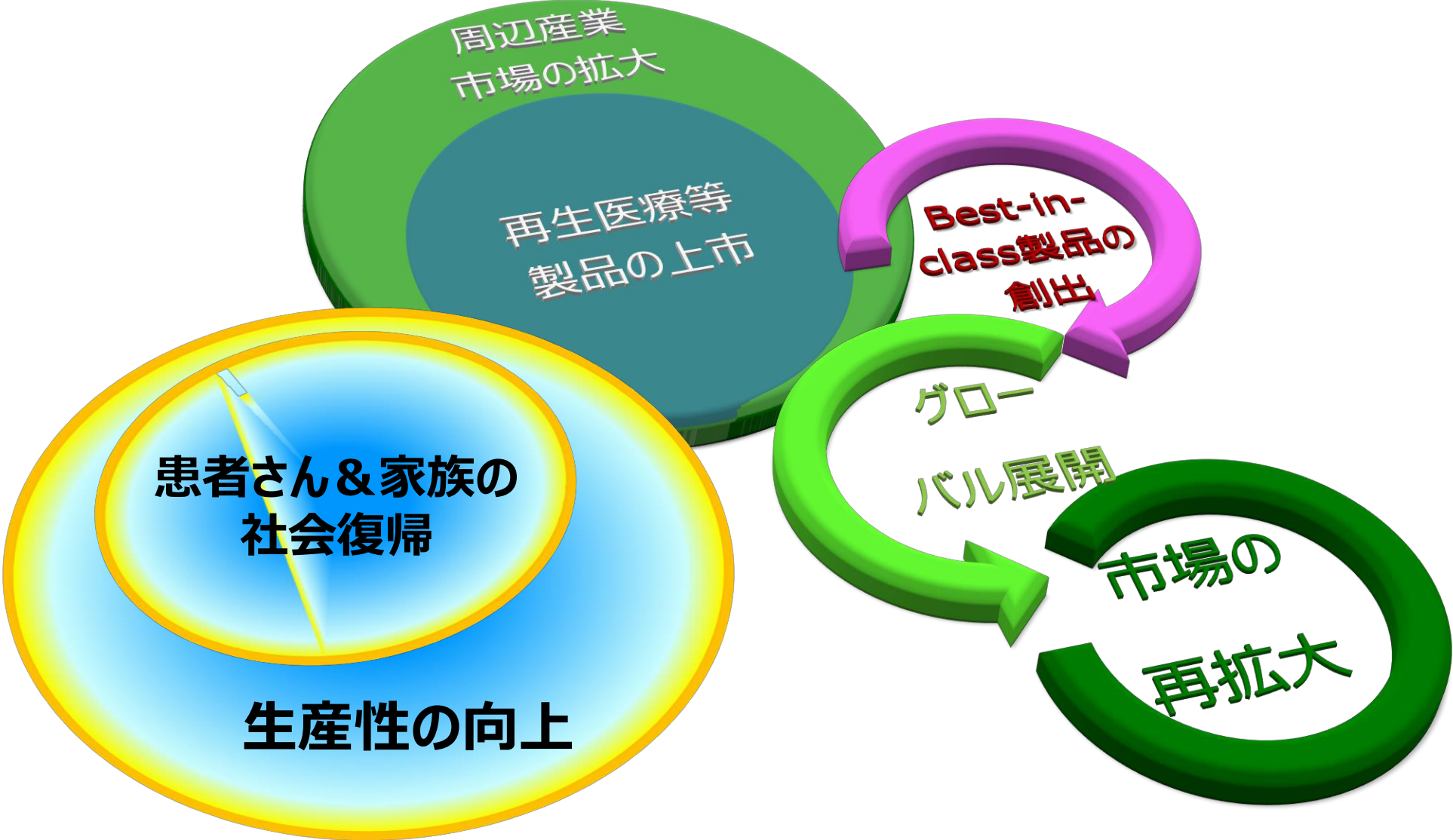
# 各モダリティ別の市場規模・成長性

再生・細胞治療、遺伝子治療、核酸医薬は市場規模は現状小さいが高成長。ペプチド、高分子、低分子医薬は現状一定の市場があり中程度～堅調に成長。

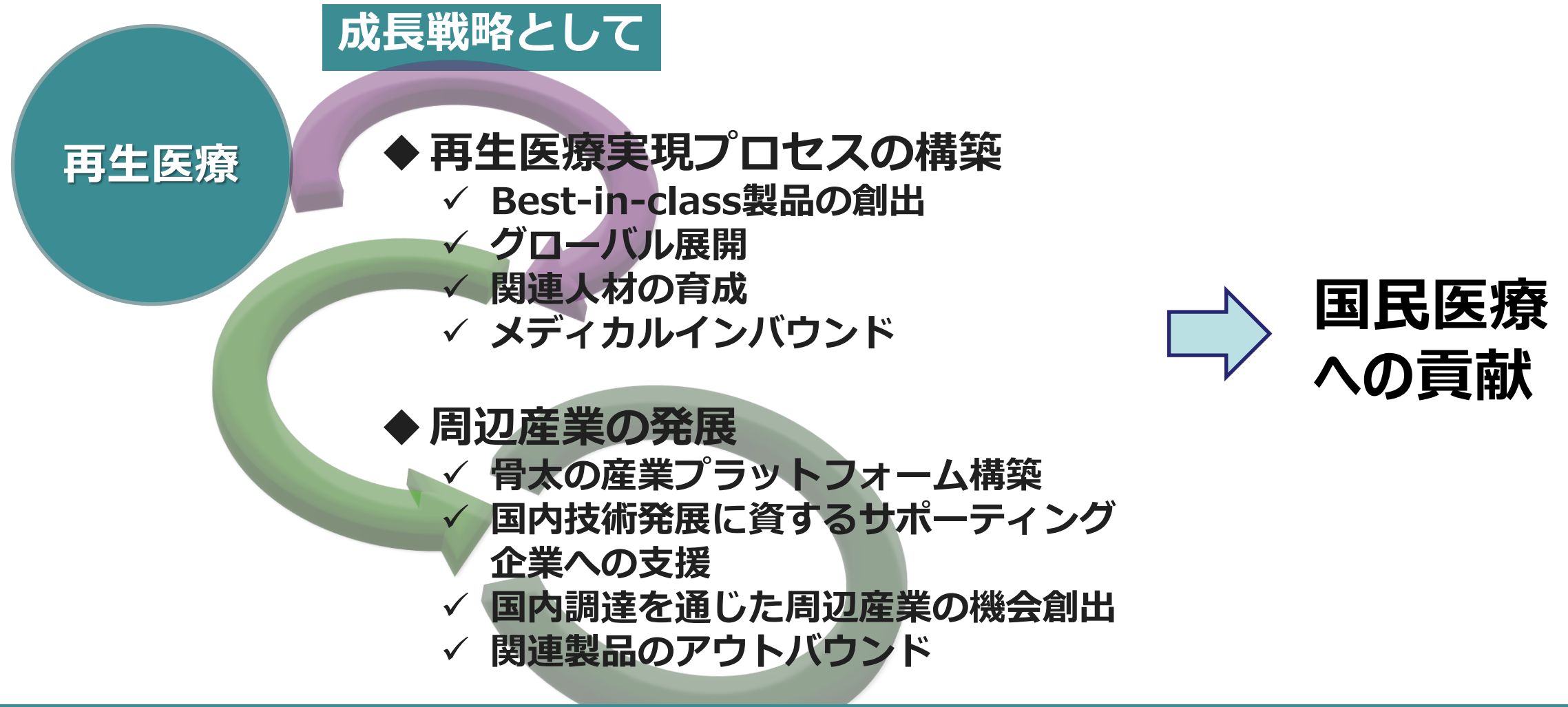
モダリティ		各モダリティの市場動向比較(グローバル)			
		市場規模 <sup>2)</sup> (2020)	成長率 <sup>3)</sup> (20-30)	市場規模 <sup>2)</sup> (2030)	製品例
再生医療	スキャフォールド治療 <sup>1)</sup>	4億円	高 (21%)	29億円	Orthocell (欧州)
	組織移植	600億円	低 (4%)	900億円	ハートシート、ジャック、ジェイス
細胞治療	細胞移植	2,200億円	高 (27%)	2.5兆円	テムセル、ステミラック注
	ex vivo 遺伝子治療	1,400億円	高 (31%)	2.0兆円	キムリア
遺伝子治療	in vivo 遺伝子治療	1,700億円 含ウイルス治療:2,100億円	高(32%) 含ウイルス治療:30%	2.6兆円 含ウイルス治療:2.9兆円	ゾルゲンスマ
	核酸医薬	4,500億円	高 (17%)	2.1兆円	スピンラザ
中分子医薬	ペプチド医薬	3.2兆円	中 (8% <sup>3)</sup> )	4.7兆円 (2025)	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	中 (8% <sup>3)</sup> )	23兆円 (2025)	オプジーボ、アクテムラ
	タンパク質医薬	6.4兆円	低 (4%)	10兆円	ネスプ、エリスロポエチン
低分子医薬	低分子医薬品	48兆円 (2016年)	低 (微増)	55兆円程度	各種抗がん剤(ドセタキセル等)

出典：内閣官房 令和元年度補正予算調査事業「医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」

# 再生医療等製品上市の影響



# 成長戦略としての再生医療



国民への医療提供全般（維持・発展）に渡るグランドデザインの構築と再生医療活用の必要性

## 本日のまとめ

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、いまだ黎明期にあるものの、従来では得られなかった医療価値を提供できる可能性を有している。
- 従来の医薬品とは異なり、製品自体はもとより、開発者の属性や開発方法、製品の提供方法も新規性を有しているとともに多様性を含んでいる。
- 現状の価値算定方法では、上記内容を含む再生医療等製品の評価が十分とは言えない。
- 再生医療等製品の上市ならびに適切な産業育成施策は、再生医療等製品提供産業のみならず、周辺産業の育成に寄与する。加えて、開発ならびに生産・提供活動の構築やその運営を通じて、適切な人材育成につながることになる。
- 再生医療自体が、国際競争にさらされている。伝統あるモノづくりに即したわが国の再生医療提供の仕組みを、海外に展開する方策が重要である。
- 国民への医療提供全般（維持・発展）にわたるグランドデザインの構築について、再生医療のようなイノベーションの活用が必要と考える。

# ご清聴ありがとうございました

---



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



## 参考資料

# 再生医療等製品の保険収載時の現状と課題

- 個別の製品の特性を踏まえ、医薬品の例により対応するか、医療機器の例により対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断される。
- 再生医療等製品の製造原価は原材料、検査等の為に高くなるケースも多い。製品ごとに状況は異なるが、原価計算方式で算定される場合、販管費や流通経費が上限の係数を超えるケースもある。しかしこれらの費用は価格に反映されない。

	再生医療等製品		
	医薬品の例	医療機器の例	実際の状況・問題点
製造原価	—	—	原材料、検査等により高額
労務費単価*	3,680円	—	医薬品以上に高い
一般管理販売比率*	50.4%	24.0%	医薬品以上の場合もある 医療機器の例によると大幅なギャップ
営業利益率*	16.1%	6.7%	医薬品の例と医療機器の例のギャップ
流通経费率*	7.3%	9.8%	特殊環境輸送、自家製品では3Wayで高額
加算制度	新薬創出等加算	なし	医薬品の例と医療機器の例のギャップ
審査期間	原則として60日以内、 遅くとも90日以内	C1: 提出月の翌月1日 から4ヶ月以内 C2: 提出月の翌月1日 から5ヶ月以内	医薬品の例と医療機器の例のギャップ

\* : 令和4年度原価計算方式における係数

# 再生医療等製品に係るコストの特徴

低分子医薬品	再生医療等製品	再生医療等製品に係るコストの特徴			
		原材料	製造	品質検査	物流
1ロット数万～数十万錠。生活習慣病など患者数が多い疾患が対象。長期間投与	1ロットの製造量が限定される（1ロット:1～数百）。患者数が少ない疾患が対象。単回～少ない投与・移植回数	製造量が限定されるため原材料費が割高となる	自動化・大量生産が難しい。スケールメリットが得にくい。製造施設・設備機器の転用が極めて困難	ロット単位で実施する検査費（無菌性、安定性等）を少ない単位で負担	高額で特殊（拡散防止、温度管理）な物流コストを患者毎（1投与・移植毎）に負担
滅菌可能	滅菌不可能。混入・拡散防止の必要性	無菌性が担保された原材料のコスト高	清浄度の高い特別な施設を設置・維持管理するコスト。混入防止に配慮した専用スペースでの製造	無菌性を確認する試験コスト	拡散防止に配慮した特別な輸送に掛かるコスト
化学物質	生細胞・遺伝子	生物由来材料の高いコスト（自家以外）	生きたものを製造するため、24時間/週7日の管理が必要となりコスト増（人件費含め）	定期的に安全性等を確認する生物試験は概して高額。厳格な温度管理	凍結・低温下等、温度の維持・管理下での輸送に掛かるコスト
化合物特許	複数の知財・技術ライセンス料	iPS細胞、CAR等	分化方法、遺伝子編集（クリスパー等）、ベクター、凍結剤	—	—

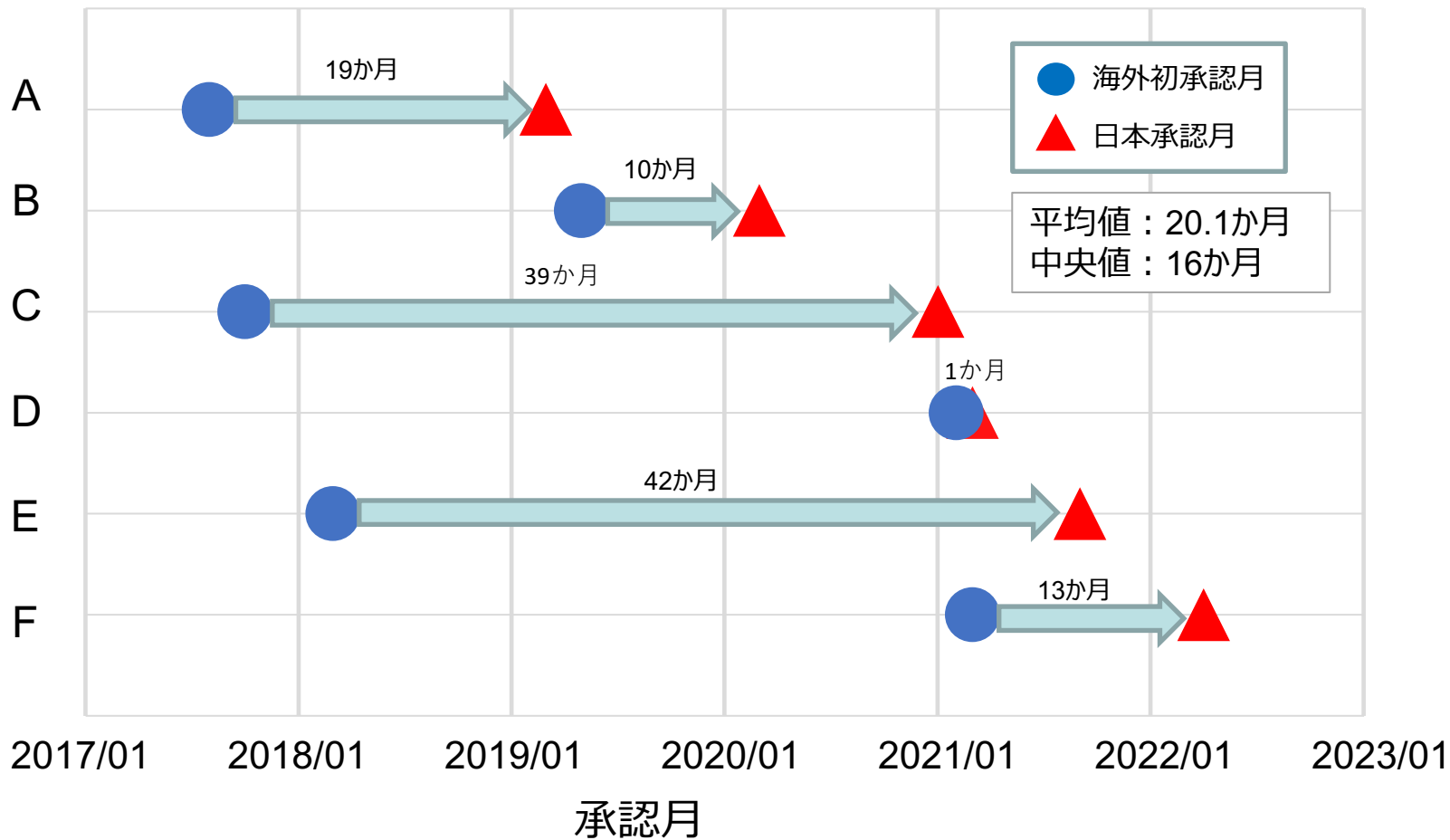


# 再生医療等製品のドラッグラグ

海外で上市後に日本で承認された再生医療等製品の海外初承認月と日本承認月の差（ドラッグラグ）は16か月（中央値）ある

海外で先に上市された製品の日本での上市が遅れる傾向にある

海外で上市後に日本で承認された再生医療等製品



R2年度PMDAの  
ドラッグラグの試算（中央値）

開発ラグ0.5年

審査ラグ0.2年

ドラッグラグ：0.7年

出典：PMDA HP

<https://www.pmda.go.jp/files/000244384.pdf>

# 再生医療等製品の多様性と規制のありかた

## ➤ 再生医療等製品の定義

再生医療等製品は、以下に掲げる製品であって、政令で定めるものをいいます。

- (1) 人又は動物の細胞に培養等の加工を施したものであって、
  - イ 身体の構造・機能の再建・修復・形成するもの
  - ロ 疾病の治療・予防を目的として使用するもの
- (2) 遺伝子治療を目的として、人の細胞に導入して使用するもの

PMDA のホームページより

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/ctp/0007.html>

