

2025年7月29日

WHITE PAPER

革新的な再生医療等製品の 持続可能なエコシステムの 確立に向けて

[著者]

株式会社日本総合研究所 リサーチ・コンサルティング部門 ヘルスケア・事業創造グループ
野田 恵一郎、川内丸 亮介、中塔 充宏、野崎 雪乃、川崎 真規、南雲 俊一郎

[共著者] (順不同)

小黒 一正 法政大学 経済学部 経済学科 教授
豊嶋 崇徳 北海道大学大学院 医学研究院 内科学分野血液内科 教授
中村 洋 慶應義塾大学大学院 経営管理研究科 教授
八代 嘉美 藤田医科大学 橋渡し研究支援人材統合教育・育成センター 教授

[協賛]

プリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社



日本総研

The Japan Research Institute, Limited

目次

1. はじめに プロジェクトの目的	1
2. 再生医療等製品のエコシステム構築の必要性和期待される効果	2
2.1. 再生医療等製品に着目する背景	2
2.2. 再生医療等製品市場の現状と課題	2
2.3. 再生医療に対する政府の取組の状況	3
2.4. 再生医療等製品のエコシステム構築の必要性	3
2.5. 再生医療等製品のエコシステム確立による恩恵	4
3. CAR-T 細胞療法の臨床的および社会的価値	5
3.1. CAR-T 細胞療法の概要	5
3.2. CAR-T 細胞療法の臨床的価値	5
3.3. CAR-T 細胞療法の社会的価値	6
4. CAR-T 細胞療法の開発と製造における課題と機会	7
4.1. CAR-T 細胞療法の製造&供給プロセス	7
4.2. CAR-T 細胞療法の開発・製造&供給における課題	7
4.3. CAR-T 細胞療法の開発・製造&供給における機会	8
5. CAR-T 細胞療法の医療保険制度と治療における課題	9
5.1. 価格算定及び再算定制度における課題	9
5.1.1. 長期にわたる臨床的価値・社会的価値	10
5.1.2. 個別化製造により規模の経済性が働かない	12
5.2. 診療報酬制度における課題	13
5.3. 治療への患者アクセスにおける課題	13
5.3.1. 診断～初期治療～再発過程	13
5.3.2. CAR-T 細胞療法へのアクセス	14
5.3.3. 治療～経過観察	14
5.3.4. 【備考 1】 民間保険の活用に対する議論の整理	15
5.3.5. 【備考 2】 費用対効果評価制度について	16
5.3.6. 【備考 3】 フランスにおける価格安定性と製造インセンティブによるイノベーション・投資促進	17
6. 再生医療等製品の普及・持続に向けて必要な対応・政策	18
提言 1 再生医療等製品の普及を促進する価格制度・診療報酬制度への変革	18
● 有用性評価の十分な価格への反映	18
● 市場拡大再算定の適用の見直し	18
● 医療現場におけるコストを適切に反映する診療報酬制度への改善	19
提言 2 エコシステムとしての課題のふかんと、次世代のサイクル回転に繋がる施策の継続	19
● ステークホルダーの連携の強化のための施策の推進	19
● コスト削減に向けた取り組みと基盤整備の継続	20

1. はじめに プロジェクトの目的

再生医療等製品とは、身体の再建や修復、形成、疾病の治療を目的として人または動物の細胞や組織を加工して作製される製品等を指す。再生医療等製品は、これまでにない治療結果を示す製品が続々と誕生しており、疾患への向き合い方を変革する可能性を秘めている。特に再生医療等製品の1つであるCAR-T細胞療法は、一度の投与により根治を目指すことができる治療法として日米欧で承認され、産業化が進み、期待されている製品である。CAR-T細胞療法は、白血病やリンパ腫、多発性骨髄腫などのがんの治療法として実用化されているが、従来の治療法と比較し大きな治療効果が示されており、今後は、免疫や神経領域など新たな疾患領域への適応の拡大が検討されている。また、このような臨床的価値に対する期待だけではなく長期の入院・介護費用を含む医療支出を削減し、患者の社会・経済活動への復帰を支援する社会的価値も期待されている。

一方、CAR-T細胞療法は研究開発の推進、製造供給体制の確立、医療提供体制の確立など、実用化に至るまでに多くの投資が必要であるが、高度で複雑なプロセスを十分に補うことができる価格制度や診療報酬制度が整備されておらず、次の新たな研究開発に投資しうる収益を得る見込みは乏しい状況にある。加えて、CAR-T細胞を製造できる国・地域は限定的であり、全体供給量も限られるため、製薬企業における供給の優先順位の観点からドラッグラグ・ドラッグロスの課題に直面することが懸念されている。

治療によって得られた知見や収益を、次世代の研究開発に投じることができなければ、革新的治療法を生み出し続けるサイクルは循環しない。再生医療等の産業が発展し続けるためには、より多くの患者が革新的な医療を享受し、持続的かつ発展的にサイクルを循環するためのエコシステムの構築が必要であると考え。例えば、日本において患者自身の細胞由来の完全個別製造であり、複雑な開発製造プロセスを持つCAR-T細胞療法のエコシステムを確立することで、国際的にリーダーシップを発揮する機会にもなりうると考える。また、エコシステムの確立は将来的な再生医療等産業を活性化し、患者・家族、社会、そして日本の産業に大きな便益をもたらすことが期待される。

日本において深刻な医療ニーズを抱える患者が継続して革新的な治療を受けることができる未来を目指すために、持続可能な再生医療等製品のエコシステムを確立することが必要である。また、改革を推進するためには様々なステークホルダーが集まり、中長期的に議論を進めることが必要となる。本プロジェクトは、その議論に確実に踏み出すべく、医療経済、再生医療等製品の技術開発、診療に関する専門家と再生医療等製品の実用化とそれを支えるエコシステム形成の障壁について議論し、多視点での解決策を模索した。この度、この検討結果をもとにわが国で取り組むべき事項を特定し、その解決策を提言する。

※本ホワイトペーパーは、株式会社日本総合研究所が公正・公平な視点を心がけて、国民・医療従事者視点で中長期的な観点から社会貢献をしたいと考え、検討内容を取りまとめて提示するものである。

2. 再生医療等製品のエコシステム構築の必要性和期待される効果

2.1. 再生医療等製品に着目する背景

再生医療等製品とは、人または動物の細胞や組織を培養などの加工を施して作製された製品であり、身体の構造や機能の再建・修復・形成、疾病の治療・予防、遺伝子治療を目的として使用される¹。従来の方法では治癒が難しい病状に対し、新たな治療の可能性を提示するとともに、患者の生活の質を大幅に向上させる潜在力を持つ。

再生医療等製品の対象疾患や製品の形態は多様であり高い臨床的価値を有している。これらは患者の社会復帰を促進し、経済活動への参加を助け、労働力人口の減少を抑制し、経済活動の安定に寄与することも期待される。さらに、再生医療等製品は患者だけでなく、その家族や介助者、患者が勤める組織や医療機関に対しても大きな負担軽減をもたらす可能性があり、社会全体の生産性向上と持続可能な経済成長に貢献すると考える。

日本における再生医療等製品の研究・開発は、政府の政策支援や産業界とアカデミアの協力によって着実に進展している^{2,3,4}。しかし、グローバル市場における競争力を強化するには、日本独自のエコシステムの構築が急務である。特に、再生医療、細胞医療、遺伝子治療といった分野は、従来の治療法では対応が困難な疾患に対し、新たな治療選択肢を提供する重要な領域である。これらの研究開発、製造技術の発展と市場形成を円滑に進めることが、日本の医療における重要課題である。

2.2. 再生医療等製品市場の現状と課題

我が国において再生医療等に関連する法律が整備されたのは、2013年/2014年であり、約10年が経過した。当時、再生医療の関連技術は2012年の山中伸弥教授のノーベル賞受賞を受けて、病気や損傷を早期に根治に導くことができ、重症化予防に役立つ可能性がある新しい医療技術として認識されつつあったが、規制制度上の位置づけが不明であったため、法整備は政府からの期待値も高い政策であった。この法整備により、「医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（薬機法）」上の再生医療等製品（保険診療）と、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律（安全性確保法）」上の再生医療等提供（自由診療・研究）に区分され、それぞれのルートでの参入・投資が促進された。一方で、現状では期待されていた国内発の再生医療の普及には及ばず、国内の限られた医療機関が扱う技術となっている。また、国内のエコシステムとしても回転が遅く、成長スピードが想定していた将来像より停滞している状況にある。

法整備の影響も受けて、整備以前は2製品のみ承認状況であったが、現在は20製品が承認されている（2025年6月現在）。ただし法整備当時に期待されていた2020年の市場規模⁵には届かない状況であり、またグローバル市

¹ 閣法「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」

² 内閣府 健康・医療戦略推進本部 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 第9回 資料 1-1：内閣府提出資料「再生・細胞医療・遺伝子治療分野における政府全体の取組について」（2023年6月）

³ 内閣府 健康・医療戦略推進本部 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会「再生・細胞医療・遺伝子治療分野の今後の取組について」（2022年5月）

⁴ 内閣官房「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2025年改訂版」（2025年6月）

⁵ 経済産業省 再生医療の実用化・産業化に関する報告書最終取りまとめ（2013年2月）

場と比較して依然として規模が小さく、そのシェアは約 3%にとどまっている。欧米で承認済みの製品の多くは日本では開発が進んでおらず、臨床試験（P3）を実施している製品も 2 割未満という状況である⁶。この産業化の停滞を克服するためには、より積極的な技術開発投資、規制改革等が求められる。

2.3. 再生医療に対する政府の取組の状況

日本政府は再生医療の研究・開発を推進するために、これまで多岐にわたる取り組みを展開してきた。2013 年/2014 年の規制制度の整備に加え、2014 年には「健康・医療戦略⁷」が策定され、再生医療を含む革新的医療技術の発展を国家戦略として明確化された。さらに 2018 年以降は「統合イノベーション戦略⁸」の策定および改定を通じ、再生医療技術の社会実装に向けた支援体制の強化が進められてきた。2020 年代に入り、政府は「経済財政運営と改革の基本方針（骨太の方針）2022」にて我が国の国益に直結する科学技術分野の 1 つであると示し、また「骨太の方針 2023」では、創薬力強化に向けた再生医療等製品の開発強化が示されている。これらの方針に従い、政府、経済産業省、厚生労働省、文部科学省、および日本医療研究開発機構（AMED）等は研究・開発の推進のために予算を計上し、推し進めてきた。更に「骨太の方針 2024」において、政府は創薬力の強化とヘルスケア推進を掲げ iPS 細胞を用いた創薬と再生医療等製品の研究開発促進を主要施策として位置づけており、直近の「骨太の方針 2025」においても引き続きこの方針を継続し、再生医療を牽引する産業振興拠点の早期整備が進められている。

また、健康・医療戦略推進事務局が策定した「バイオエコノミー戦略⁹」では、2030 年を目指して日本発の再生医療等製品をグローバル展開する目標が示されており、国内外での市場確立と産業化を目指している。加えて、経済産業省は、再生医療等製品の効率的な製造プロセスの開発と国内産業基盤の強化を推進しており、特に直近の令和 6 年度補正「再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業¹⁰」では、円滑に再生医療等製品などを製造できる能力を国内に確保するための受託開発・製造事業者（CDMO：Contract Development and Manufacturing Organization）の国内製造拠点の整備や関連人材の育成に対しての支援を行っている。日本の創薬力向上とグローバル市場での競争力強化を目指しており、現状、成果としては途上ではあるが、このような包括的な政策はエコシステムの基盤構築を進め、日本が国際的な競争力を高めるための重要な役割を果たすものと考えられる。

2.4. 再生医療等製品のエコシステム構築の必要性

再生医療等製品は、革新的な治療法を提供する画期的な技術であるが、その研究から患者への治療に至るまでには多岐にわたる課題を克服する必要がある。例えば研究開発段階において細胞や動物モデルによる検証を行い、人を対象とした臨床試験を通じてその安全性と有効性が実証される必要がある。さらに、従来の医薬品とは異なる個別製造およびコールドチェーン等の特殊な供給体制を確立し、製品としての安定供給を確立した後、様々な規制当局による審査を受け、医療機関で提供可能な環境が構築されることも必要である。

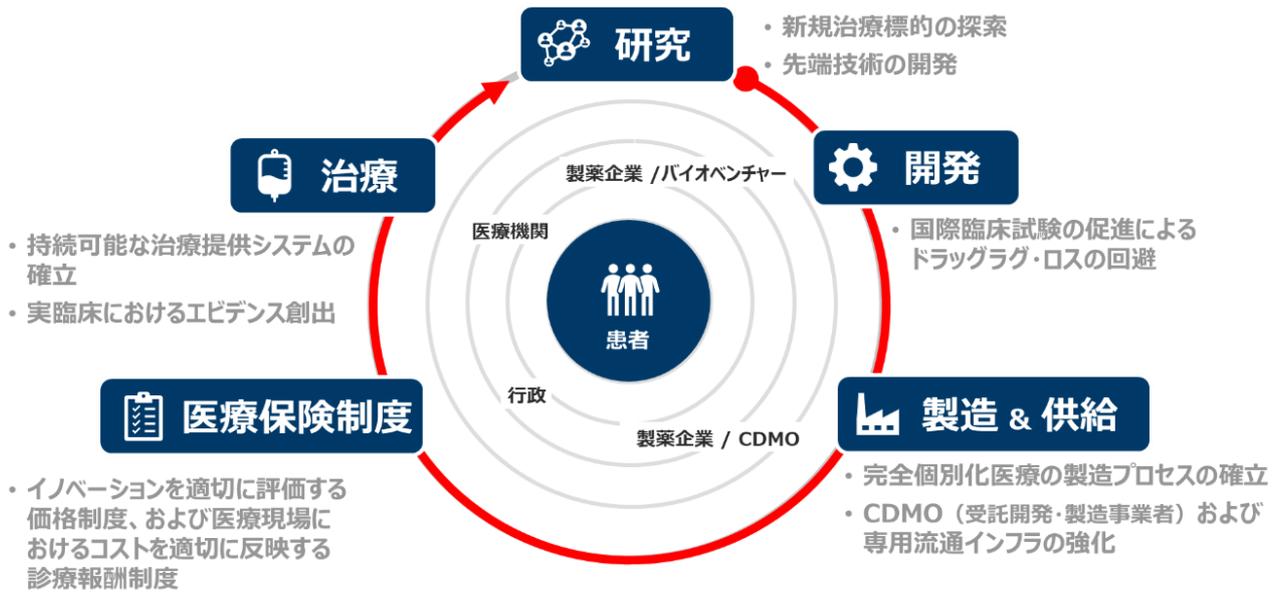
⁶ 厚生労働省 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会（第 236 回） 意見陳述資料 再生医療イノベーションフォーラム「再生医療等製品の価格算定に対する意見」（2025 年 7 月）

⁷ 健康・医療戦略（2014 年 7 月 閣議決定）など

⁸ 統合イノベーション戦略（2018 年 6 月 閣議決定）など

⁹ バイオエコノミー戦略（2024 年 6 月統合イノベーション戦略推進会議決定）

¹⁰ 経済産業省 令和 6 年度補正「再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業」



図表 1 持続可能な再生医療等製品エコシステム（連鎖の仕組み）の概要

この一連の流れを「エコシステム」として持続的に運用するためには、実臨床におけるアウトカムや、得られた知見・収益を、次のサイクルの研究・開発・製造に再投資し、次世代の製品開発を可能にすることが不可欠である。エコシステムが持続的に循環することにより、より多くの患者に革新的な医療を届けることができ、同時に産業としての成長と医療の進展を実現することが期待される。

2.5. 再生医療等製品のエコシステム確立による恩恵

再生医療等製品のエコシステムが確立され、持続的に製品が普及し続けることにより、日本の医療、産業、社会に大きな恩恵がもたらされるとともに、本分野でリーダーシップを発揮することによる国際的な競争力も強化されることが望まれる。

日本の医療環境において、日本国内で日本の患者向けに再生医療等製品を製造することは、世界的な製造数及び保存可能期間の制約に対処し、持続的な供給を可能にする。これにより、重篤な疾患の治療の早期段階から患者がアクセスできるようになり、日本の患者やその家族の生活に大きな変化をもたらす。さらに、現在の需要だけでなく、将来的には自己免疫疾患など多様な疾患の治療ニーズを満たす可能性が期待される。

また、日本の人材活躍の面では、エコシステムの構築により、日本のバイオテクノロジーに関する高度人材が研究開発や製造の分野で活躍する場を創出できる。また、医療従事者の負担を軽減し、他の疾患の治療に集中できる環境を構築することが可能であり、さらに、重篤な疾患が根治した患者やその家族が社会活動に復帰することで、計り知れない社会的・経済的貢献が期待される。

国際的な競争力の観点からも、アジア諸国に対して再生医療等製品を迅速に供給できることは重要である。再生医療等製品に関する技術は日本のバイオ産業の基盤となる可能性があり、日本を起点とした研究開発の加速につながる。これらは、国際的なリーダーシップを発揮する機会へと発展し、アジア諸国および世界的にも日本の影響力を拡大することに寄与することが期待される。

3. CAR-T 細胞療法の臨床的および社会的価値

3.1. CAR-T 細胞療法の概要

本ホワイトペーパーでは、再生医療等製品が抱える具体的な課題を洗い出すために、CAR-T 細胞療法に着目した。その理由としては、CAR-T 細胞療法が有する臨床的価値、社会的価値や、個別化医療としての製造プロセス・品質管理の複雑さが再生医療等製品の特徴を強く表していること、また、数ある再生医療等製品の中でも、日米欧で承認され、産業化が進んでいることが挙げられる。

CAR-T 細胞療法では、患者自身の T 細胞を採取し、遺伝子改変技術によって再プログラミングすることで、がん細胞を特異的に認識・攻撃する機能を持たせる。その細胞を増殖させた上で、再生医療等製品として患者自身に投与することで、治療効果を発揮する完全個別化医療の革新的な治療法である。現在、日本において計 5 製品が承認されており、B 細胞性急性リンパ芽球性白血病、大細胞型 B 細胞リンパ腫、多発性骨髄腫などの血液がんが適応となっている。また CAR-T 細胞療法は、固形がんや自己免疫疾患にも有効性を発揮する可能性があり、多様な疾患への対応が期待されている。

3.2. CAR-T 細胞療法の臨床的価値

CAR-T 細胞療法の臨床的価値は、臨床試験および製造販売後臨床データに基づき、評価されている。この治療法は、重篤な疾患に対して根治を目指すことができ、長期的に無治療状態を達成する可能性がある。臨床試験の結果によれば、重篤な血液がんの患者に対して 1 度の投与で全生存期間 (OS) および QALY (質調整生存年) における画期的な効果^{11, 12}が得られており、また製造販売後の臨床試験においても高い奏効率と生存率が示されていることが報告されている¹³。

さらに、CAR-T 細胞療法は確立した安全性プロファイルを有しており¹⁴、これまで治療が困難であった疾患において患者の健康状態を大きく改善し、革新的な治療薬として医療の選択肢を新たに広げる可能性がある。こうした臨床的価値は実臨床のデータからも有効性が確認されており¹⁵、がん治療の未来を大きく変革すると共に、幅広い疾患領域の患者に対する治療法として応用が期待されている。

¹¹ Bristol Myers Squibb 「TRANSCEND trial: Largest pivotal trial in 3L+ large B-cell lymphoma, including patients with high-risk disease」

¹² Gilead Sciences 「Yescarta® Is First CAR T-cell Therapy to Report Five-Year Survival Data From Pivotal Study Showing Durable Long-Term Survival in Patients With Refractory Large B-cell Lymphoma」 (2021 年 12 月)

¹³ Neelapu SS. Five-year follow-up of ZUMA-1 supports the curative potential of axicabtagene ciloleucel in refractory large B-cell lymphoma. *Blood*. 2023;141(19):2307-2315.

¹⁴ Abramson JS. Lisocabtagene maraleucel as second-line therapy for large B-cell lymphoma: primary analysis of the phase 3 TRANSFORM study. *Blood*. 2023;141(14):1675-1684.

¹⁵ Crombie N. Real-world outcomes with novel therapies in R/R DLBCL. *Hematol Oncol*. 2023;41(3):453-468.

3.3. CAR-T 細胞療法の社会的価値

CAR-T 細胞療法は上記の通り、1 回限りの個別化医療であり、定期的な通院、投与、継続的なコストを伴う長期治療の必要性を減らし、また、長期間にわたる患者の生活の質（QoL : Quality of Life）を改善させることが可能である。患者自身の健康状態が改善されることにより、患者自身の早期の社会復帰・経済活動の復帰、生産性の向上を支援し、また、家族や介助者の負担等の間接的な社会における負担の軽減にも寄与する。

上記の観点から、CAR-T 細胞療法は社会における経済的な価値も高い。例えば米国の試算によれば、多発性骨髄腫の細胞療法と標準治療の医療コストを比較した場合、細胞療法の方が 30.3%の費用削減効果があると推計されている。この推計の要因には、標準療法による継続的な抗がん剤治療費や入院日数、外来頻度が細胞療法により削減され、かつ患者の生涯賃金の損失、介護者の生産性低下が補填されるためと述べられている¹⁶。加えて患者が勤める組織や医療機関などの医療に充てる資源の効率的な運用により、医療の持続可能性が高まることに貢献し、より多くの患者が質の高い治療にアクセスできる環境が整うことが期待される。

日本では労働力人口の減少に伴い本格的な人手不足経済に陥るため、相対的に一人当たりの労働者の経済的価値が高まりつつある。CAR-T 細胞療法は広範な社会へ影響を与えうる医療技術の重要な技術革新として、さらに普及が進むことが望まれる。

¹⁶ Alliance for Regenerative Medicine 「A Transformative Therapy Value Model for Rare Blood Diseases」 (2020 年 1 月)

4. CAR-T 細胞療法の開発と製造における課題と機会

再生医療等製品の製造は、従来の医薬品とは異なる製造プロセスとなり、それに伴う体制が必要となる。個別化医療の要素を含むため、品質管理や生産プロセスの標準化が課題となる。近年、経済産業省を中心に製造拠点の環境整備が進められており、インフラの整備は着実に進展している。しかし、製造技術のさらなる向上とコスト削減を図ることで、より多くの患者に治療を届ける体制を構築する必要がある。

供給面では、治療を必要とする患者が適切なタイミングで再生医療等製品を利用できるよう、医療機関との連携を強化し、供給のネットワークを最適化することが求められる。特に、製品の安定供給を確保するための流通体制の整備が重要である。

4.1. CAR-T 細胞療法の製造&供給プロセス

CAR-T 細胞療法は、患者自身の T 細胞を遺伝子改変することによって生み出される完全個別化医療として、複雑な製造と供給プロセスを経る。まず、患者から白血球アフェレーシスを用いて T 細胞を採取し、これらの細胞を製薬企業の細胞調製施設に搬送する。そこで遺伝子改変技術を利用して、T 細胞にキメラ抗原受容体 (CAR) を導入する。この改変により、T 細胞はがん細胞を特異的に認識し攻撃する能力を持つようになる。遺伝子改変された T 細胞は培養環境で増殖される。一連のプロセスには品質管理試験が設けられており、全て適格となった細胞が製品として凍結保存され、出荷される。その後、製品は治療施設に輸送され、解凍され、厳格な副作用管理体制のもと、患者に投与される。

4.2. CAR-T 細胞療法の開発・製造&供給における課題

CAR-T 細胞療法は従来の医薬品とは異なる革新性を有する一方で、その開発、製造、供給も従来の医薬品とは大きく異なり、多くの課題が存在する。

従来の医薬品は化学合成、大量培養等で大量に均一的な製品を製造することができ、また在庫として備蓄し物流網に乗せることで、多数の患者に効率的に供給することができる。一方、CAR-T 細胞療法では患者本人由来の生きている細胞を取り扱うため、専門的な施設と設備が必要となり、製造・品質管理の多くの工程で専門性が高く特別なトレーニングを受けた人材による個別作業に依存している状況にある。また、多くの特許が組み合わさった技術であることからライセンス料も高額となり、患者ごとに高価で特殊な原材料を使用しており、一部の材料は供給不足の面から、価格が高騰している状況にある。輸送には専用の輸送パッケージと輸送インフラ (-150℃などのコールドチェーン) が必要となり、患者ごとに、医療機関から細胞調製施設へ、そして再び医療機関への輸送が必要となる。現在、CAR-T 細胞療法の製造は主に海外で行われており、輸送に伴う特殊な手段やタイムラグが大きな課題となる。

このように CAR-T 細胞療法は従来の医薬品と比べて高い製品製造原価、研究開発費、流通経費がかかる完全個別化医療であり、規模の経済性は働かない。

また、CAR-T 細胞療法は製造プロセスが最終製品の有効性や品質に大きく影響を与えることから、開発の早期段階から商業的観点を取り入れて、製造プロセスを構築することが求められる。海外ではスタートアップエコシステムとして、

バイオスタートアップがアカデミアのシーズを企業化し、ベンチャーキャピタルや投資市場からの資金調達をおこなうことが可能な環境が形成されており、その資金力を背景に早期段階から製薬企業や CDMO が関与し、開発を加速することが可能である。一方、日本ではスタートアップエコシステムが十分に発達していないことに加え、現在の価格制度のままでは国内市場の魅力が他国と比較して低くなり、日本で臨床試験から製造まで行う投資を呼び込めないことから、商業的観点の製造プロセスへの転換が遅れ、実用化が遅れることが懸念される。

これらの課題を克服するためには、まずは技術革新と製造規模の拡大が不可欠である。製造技術の標準化と効率化、サプライチェーンの最適化、専門性の高い人材の育成と施設の整備が求められる。これにより、日本は国際競争力を高めることが期待される。

4.3. CAR-T 細胞療法の開発・製造&供給における機会

一方で、CAR-T 細胞療法の開発・製造と供給の分野は、日本にとって大きな機会を提供している。現在、CAR-T 細胞療法を提供できる国は限られており、製造、臨床開発、エビデンス創出の観点で、日本は世界をリードできる可能性を持っている。日本政府は、経済産業省による「再生医療産業化基盤整備プログラム」等をはじめとして、製造施設の整備支援を行い、CAR-T 細胞療法を含む再生医療や細胞医療、遺伝子治療などの CDMO に対して積極的に投資を行う方針である。この取り組みにより、国内の製造能力を強化し、アジアの製造及び供給のハブとしての役割を担い、国際的な競争力を高めることを目指している。

政府の施策は、専門的な人材の育成や施設の整備を促進し、サプライチェーンの高度化を実現するための基盤を整えることが期待されている。これにより、日本がこの分野でリーダーシップを発揮することで、より広範な患者に対するアクセスが可能となり、新たな治療の機会を提供することが期待される。

5. CAR-T 細胞療法の医療保険制度と治療における課題

日本の医療保険制度は、国民皆保険制度のもとで運用されており、承認後の保険償還が比較的短期間で行われる点が特徴である¹⁷。また、全国的に高度な再生医療等製品を用いた治療施設が存在し、患者が先進的な治療を受けやすい環境が整っている。

幅広い疾患に対する治療選択肢の 1 つとして再生医療等製品を提示していくためには、保険償還制度による持続可能な提供が担保される仕組みが重要となる。しかし、製品価格や医療技術としての保険償還や、医療機関の施設設備への投資は従来の制度の延長線上で設計されており、再生医療の特性が十分に評価されているとは言い難い。特に、再生医療等製品が貢献し得る患者の生涯にわたった転帰（アウトカム）や介助者に対する負担軽減、社会に対する貢献をどのように保険償還制度に反映させるか、製造数に応じた規模の経済性が十分に働かないことを踏まえてどのように現行制度との整合を確保すべきか、革新的な治療法を普及させるための医療機関への投資の在り方をどうするべきかについて、議論が必要である。

5.1. 価格算定及び再算定制度における課題

日本では価格を抑えることで迅速で広範囲な保険償還が可能となるが、一方欧州では、企業が価格を高く設定しつつも費用対効果評価での検証により保険償還が遅れる傾向にあると考えられる。しかしながら、価格が低く設定されすぎる事により、企業の研究開発のインセンティブが低下し、ドラッグラグやドラッグロスに繋がる恐れがある。

日本では製品価格の水準が諸外国と比較しそもそも低く設定される傾向にある。日本及び海外で承認されている製品数は多くはないが、例えば 2023 年の調査で CAR-T 細胞療法製品の価格を比較すると、日本では各製品ともに 3,300 万円程度であるのに対し、米国では 6,800 万円～8,700 万円、英国では 4,500 万円～4,600 万円、ドイツでは 3,700 万円～5,900 万円、フランスでは 3,700 万円～5,900 万円であった¹⁸。クローン病患者における複雑痔瘻の治療を対象とした他家間葉系幹細胞加工製品のアロフィセルは、日本での保険収載価格は約 560 万円であったのに対し、参照されたフランスでの価格は約 690 万円¹⁹であった。また遺伝子治療薬として、脊髄性筋萎縮症の治療を対象とするゾルゲンスマは、日本での保険収載価格は約 1 億 6,708 万円であったのに対し、参照された米国での価格は 2 億 3,000 万円～2 億 8,000 万円²⁰であった。一方、遺伝性網膜ジストロフィーを対象疾患として承認されたルクスターナは、日本での保険収載価格が約 5,000 万円に対し、参照された英国での価格は約 5,000 万円、フランスでの価格は約 4,100 万円であり²¹、参照国と比較しても遜色ない価格が付けられているが、ピーク時患者数は 5 人と医療財政上でも影響が少ないという背景も想像される。

¹⁷ 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.66 「新薬はなぜ、承認から 60 日で患者さんに届くのか」（2022 年 7 月）

¹⁸ 医療・医薬総合研究所 薬価流通政策研究会 くすり未来塾 「～医療先進国としての明るい未来を目指して～医薬品制度改革提言Ⅶ」（2023 年 11 月）

¹⁹ 厚生労働省 中央社会保険医療協議会 総会（第 497 回） 「再生医療等製品の保険適用について」（2021 年 11 月）

²⁰ 厚生労働省 中央社会保険医療協議会 総会（第 458 回） 「再生医療等製品の保険適用について」（2020 年 5 月）

²¹ 厚生労働省 中央社会保険医療協議会 総会（第 552 回） 「再生医療等製品の保険適用について」（2023 年 8 月）

現在では円安によって海外価格はさらに上昇し、日本の価格との差が開いている状況にある。また、日本は償還後に価格が引き上げられることは少ないが、海外では価格が引き上げられる仕組みがあることも更に差が開く一因となっている。

5.1.1. 長期にわたる臨床的価値・社会的価値

我が国の国民医療費は 2022 年度に 46 兆 6967 億円²²に達した。2025 年度には約 50 兆円に近づく見込みであり、高齢化の進行により医療需要が拡大している。医療給付費の財政的な負担が急速に増大する懸念に対し、政府は診療報酬や特許切れ成分を中心とした製品価格の調整、適正な回数の設定を通じて急速な増大を抑制する対応を進めている。しかし、これに伴い一部の企業は収益性の課題、医療機関は施設、設備、人的リソースの課題を抱える可能性が高まり、患者にとってはドラッグラグ/ロスの危機の可能性が高まっている。また大きな課題として、投資利益が次世代のイノベーション開発に還元できなくなることが予見される。

これらを解消するための抜本的な改革案として、例えば、新時代戦略研究所から、以下の 2 点が提案され、議論されている²³が、中長期的な将来を見据えた制度の設計が必要と考える。

(1) 医療給付費総予算の経済成長率に応じた管理

過剰な医療費抑制の制約が患者の健康や医療の質に悪影響を与えることを防ぐため、医療給付費を一定程度管理すべきとの議論がなされている。例えば医療給付費のうち薬剤費部分を中長期的な名目 GDP 成長率に沿って伸ばすことにより管理し、財源枠の上限と下限をあらかじめ数値で示すことで、イノベティブな医薬品への資源配分を適切に確保しながら、財源捻出に伴う突発的で機械的な価格引き下げが制度上発生しない予見性の高い環境を整える提案がなされている。なお、名目 GDP 成長率には GDP デフレーターへの伸びが存在することから、薬剤費の伸びに物価相当分も適切に反映できる。

(2) 多様な価値を評価する仕組みの導入

医療の質向上と持続可能性を両立させるため、医療技術評価が実質的に Cost と QALY（質調整生存年）のみの求心的な運用となっている不透明なプロセスを改善すべきとの議論がなされている。現在の費用対効果評価制度では、短期的な医療システムのみ焦点を置いており、長期にわたる医療費の削減、仕事・社会生活への復帰や介護者の時間の増加など、社会への増分的な利益を捉えていない。例えば、広汎な価値要素（仕事への影響や介助者・家族等の健康状態、社会的インパクト）を組み込んだ価値評価への抜本的改善を行う一方で、臨床効果や社会的便益が一定基準を下回る医薬品・技術を価値の低い医療として定義・分類し、代替治療の提示とともに段階的な保険点数の縮減や保険償還からの退出を進めるべきという提案がなされている。

価格算定時の補正加算に関しては、再生医療等製品の場合、移植や投与後の長期間にわたる転帰の観察が必要であり、各要件項目が申請時に十分に検証されていないことが多いと考えられる。また、再生医療等製品には、現行の補正加算では評価しきれない貢献がある。我が国の重要な問題として、2040 年に向けた人口の高齢化に伴う医療の総需要の増加や、一人当たり医療費の増加が予見され、労働生産層への負担増が挙げられる。再生医療等製品

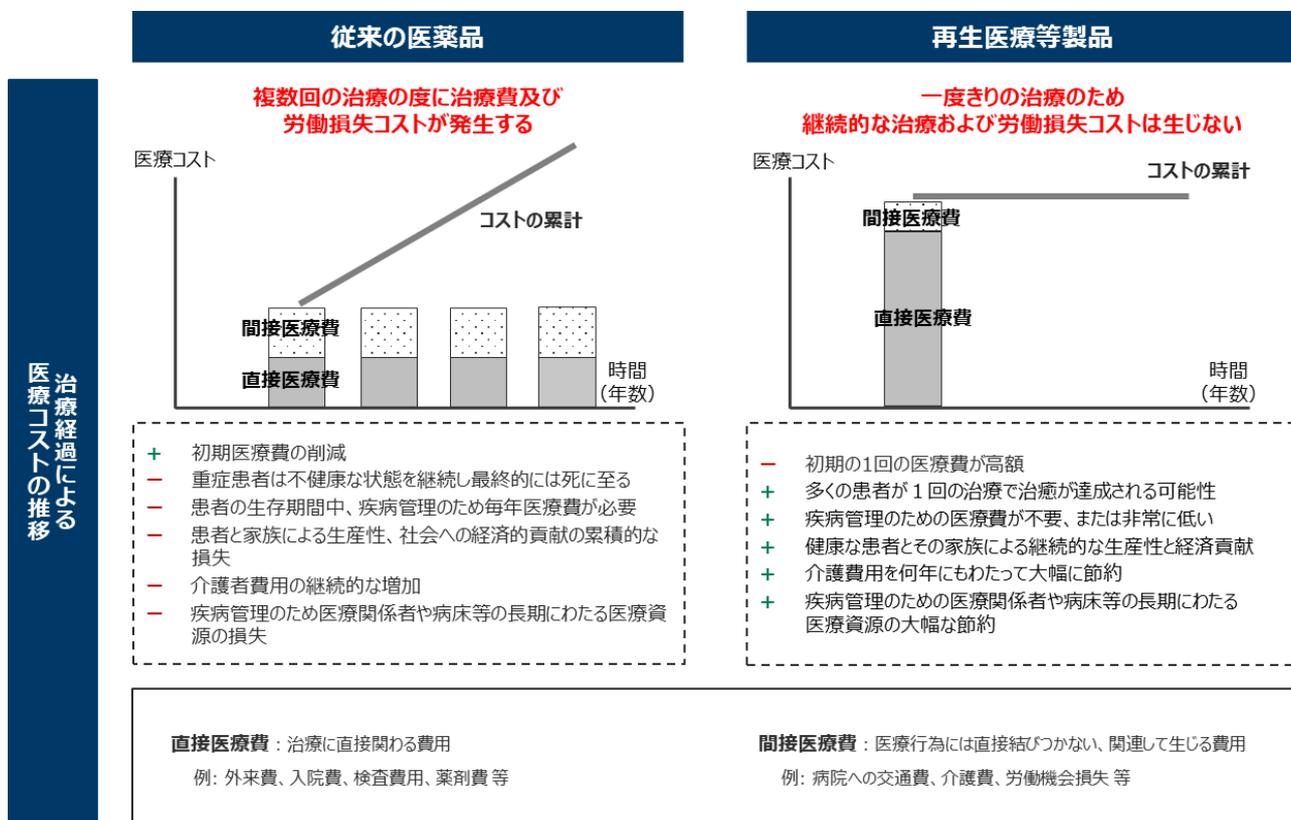
²² 厚生労働省「令和 4（2022）年度 国民医療費の概況」（2024 年 10 月）

²³ 新時代戦略研究所「創薬イノベーション再興の会 提言書」（2025 年 5 月）

は特にこの課題に対し貢献できる技術であり、従来の医療技術では根治が難しかった疾患に対して、治療や根治の可能性を示し、長期の入院・介護費用などの医療資源の削減、労働者の社会復帰による生産性の向上などが期待される。実際にキムリアの費用対効果が評価された際には、参考的ではあるものの、生産性損失に対する試算が行われ、ポジティブな結果が得られている²⁴。

実臨床におけるデータの収集・分析基盤を整備し、実臨床で得られた知見や課題を次世代の研究開発にフィードバックさせるリバーストランスレーショナル研究を促進させるためにも、既掲載品において、市販後の有効性・安全性が検証された際のイノベーションに対する評価が十分に価格に反映される加算制度について検討を深める必要があると考える。

医療における価値の捉え方は享受する主体によって多様であり、価値によっては各ステークホルダー間で利益相反が起こる可能性もあるが、再生医療等製品が提供する価値を企業・学会などが主体となってエビデンスデータを提示し、社会的に価値が認められた場合には補正加算として反映される制度設計の提案は、我が国の未来にとって有用なものとなる。



図表 2 従来の医薬品と再生医療等製品の治療経過によるコストの推移（イメージ図）

²⁴ 医薬産業政策研究所 政策研ニュース No.68 「日本の費用対効果評価制度のこれまでとこれから」（2023年3月）

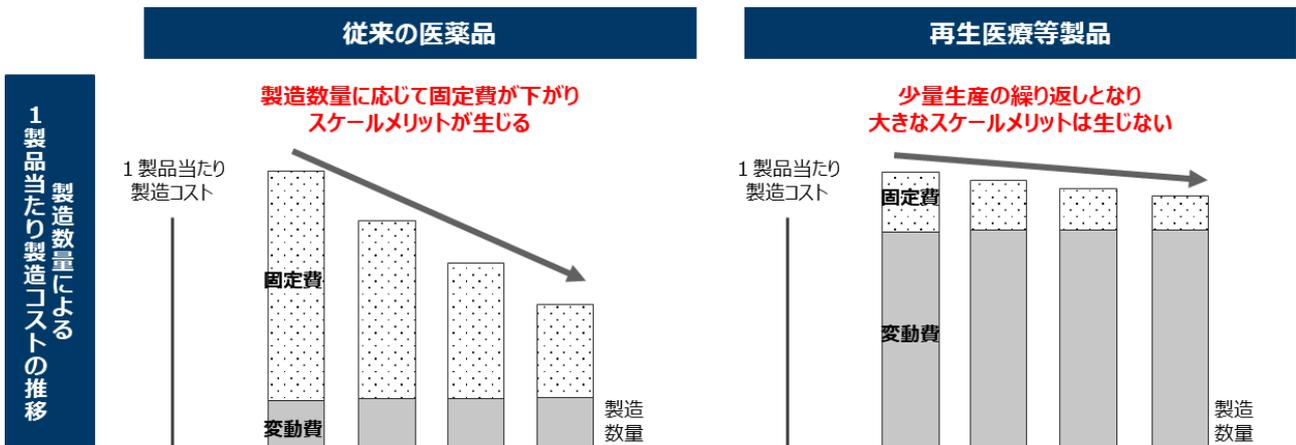
5.1.2. 個別化製造により規模の経済性が働かない

日本の薬価制度には、特許期間中の革新的な医薬品であっても価格を一律に下げられる制度があり、その一つが市場拡大再算定である。市場拡大再算定は医療費の適正化や予算の効率的な運用等を目的として、医薬品の市場規模が当初予測を大幅に上回った場合に価格を引き上げる仕組みであり、具体的な要件として以下が設けられている。

- ① 市場規模が当初予測の2倍以上で、かつ年間売上が150億円を超える場合。
- ② 原価計算方式で改定を経していない場合、当初予測の10倍かつ年間売上が100億円を超える場合。

この制度は従来の大量製造が可能な医薬品において、規模の経済性が働き、1製品あたりのコストを下げられることを前提に成り立っている。一方、CAR-T細胞療法は複雑で個別化された製造工程を必要とし、高度で専門的な人材育成、品質管理、物流、製造後の運用に多大な費用がかかる。さらに、供給する患者数が増加した場合も、個別製造の繰り返しであり、輸送・供給ラインも同様に増やす必要があるため、大量生産による製造コストの削減は不可能である。また、製品の世界的な製造・供給が限られており、日本の価格制度や為替等の影響で価格が抑えられた場合、製造の優先順位による判断から患者アクセスの継続が困難になり、治療の選択肢が制限される可能性がある。

CAR-T細胞療法製品は現在までに市場拡大再算定および共連れに該当した品目はないが、対象患者数の拡大に伴い、近い将来に対象になる品目がでてくる可能性がある。日本の患者に対する持続可能な供給を確保するために、市場拡大再算定の見直しをすることが妥当であると考ええる。



図表 3 従来の医薬品と再生医療等製品の製品製造コストと製造数量の関係（イメージ図）

5.2. 診療報酬制度における課題

再生医療等製品の普及において、医療機関が積極的に設備投資や人材育成を行えるようにするためには、利益を確保できる仕組みが必要である。しかし、現状では医療機関が持続的に高品質な医療を提供できる体制の構築に課題が残る。

特に、医療施設の設備投資や人的リソースの強化に向けた手技料・管理料の適切な設定が不十分であり、医療機関が利益を確保することが困難な状況にある。例えば、CAR-T 細胞療法に関する手技の診療報酬は、プロセスが類似する自家末梢血幹細胞移植術の診療報酬制度が準用されているが、実施に必要な人員・設備等の医療提供体制にかかるコストは、現行の診療報酬ではカバーされていない部分も見受けられる。具体的には、1 回の CAR-T 細胞の作製に際して 1 度のアフエーシスのみが診療報酬として認められているが、1 回目のアフエーシスが基準を満たさず、再度アフエーシスが必要となった場合は償還対象とならず医療機関の費用負担となる²⁵。また、CAR-T 細胞製造のためには、製造施設との細胞の輸送・受入れ体制の構築や超低温輸送容器の準備が必要となるが、診療報酬上カバーされていない。加えて CAR-T 細胞療法は、自家末梢血幹細胞移植に比べはるかに高度で長期化する副作用対策が必要であるが、これに対する管理、薬剤などが考慮されていないこと等が挙げられる。

診療報酬制度の設計においては、医療機関が積極的に設備投資や人材育成を行えるようにし、利益を確保できる仕組みを整えることが求められる。これらの課題への対応は、再生医療等製品を用いた医療の質とアクセスを同時に向上させ、持続可能な発展を支える基盤となる。

5.3. 治療への患者アクセスにおける課題

患者の再生医療等製品へのアクセスを確保し、治療を安心して受けることができる環境を整えるためには、以下の課題を克服することが重要である。

5.3.1. 診断～初期治療～再発過程

患者は、診断から初期治療、そして再発に至る過程で、日常生活における大きな変化や、疾患の経過、予後に対する不安を抱える。また、疾患そのものに対する理解や、再生医療等製品も含めた治療選択肢に関する情報が不足しているため、自らの治療について十分に理解することが難しい状況である。加えて、転院による環境変化や治療の副作用に対する不安が患者アクセスの障壁として大きく立ちはだかっている。

²⁵ 内科系学会社会保険連合「令和 6 年度改定提案意向調査」日本造血・免疫細胞療法学会より意向提出（2023 年 2 月）

5.3.2. CAR-T 細胞療法へのアクセス

CAR-T 細胞療法の臨床試験では、サイトカイン放出症候群を起こすなど特異的な重症有害事象も報告されたことから、安全性に配慮して限定された提供可能施設のみで治療を実施することとなっている。一方で、国内の提供可能施設数は製品によって異なるが、36～67 施設と限られており²⁶、特に地方在住の患者にとってはアクセスが困難な状況である。

また、米国の診療ガイドライン上では治療選択肢の中で CAR-T 細胞療法の位置づけが確立されている²⁷一方で、日本の診療ガイドラインでは治療選択肢の 1 つとして挙げられるに留まっており²⁸、患者・医師等の治療選択の判断に影響を与えている。

加えて、治療提供施設と患者紹介元施設を効果的に結びつける制度やネットワーク、専門コーディネータが整備されておらず、診療情報の提供負担が存在するが、患者紹介のインセンティブは不十分である。そのため、再生医療等製品を必要とする患者が適切な治療を受けるためのアクセスが限定されている。特に急性疾患においては、再発までに患者や紹介元医師との間で次の治療、つまり CAR-T 細胞療法について情報の円滑な伝達や、事前の話し合いが行われていないことが問題となる。

5.3.3. 治療～経過観察

治療から経過観察に至るまでのプロセスでも、患者は多くの不安を抱える。特にフォローアップ体制に対する不安が大きいため、安心して予後を過ごすためには、より良いフォローアップ体制の整備が求められる。

²⁶ CAR-T 細胞療法の国内提供可能施設数 キムリア 49 施設、ブレヤンジ 39 施設、イェスカルタ 67 施設、アベクマ 36 施設
日本総合研究所調査（2025 年 3 月時点）

²⁷ NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology（2025 年 6 月時点）

²⁸ 日本血液学会「造血器腫瘍診療ガイドライン第 3.1 版（2024 年版）WEB 版」（2024 年 12 月）

5.3.4.【備考 1】 民間保険の活用に対する議論の整理

日本では医療費が年々増加している背景から公的医療保険制度の持続可能性が懸念されており、一部の高額医薬品を公的保険の給付対象から除外し、民間保険を活用することで、社会保険料の抑制を図る提案が検討されている。

公的医療保険制度は、すべての人が大きなリスクに対応し、必要な医療サービスを経済的負担なく受けられるユニバーサルヘルスカバレッジ（UHC）の理念を実現することを目指しているが、高額な医薬品を公的保険の対象から除外することは、この理念に対して重大な問題を引き起こす可能性がある。また、医療技術の発展により、治療法が多様化し、患者の選択肢が増える中で、経済的理由によってその選択肢が制限されることは、医療の質とアクセスの向上に逆行する。この観点から、再生医療等製品及び関連技術は、公的医療保険制度上の償還対象として扱い続けることが望ましいと考える。

一方で、政府は、CAR-T 細胞療法のように PMDA により正式承認を得ている製品とは区別して、有効性評価が十分でない最先端の医療技術等を保険診療の対象となるまで待つことなく利用できるよう、保険外併用療法の対象範囲を拡大する方針である²⁹。現状、安全性確保法上の医療技術としての再生医療等の知見は、次世代のエコシステムに十分に活用されているとは言い難いが、これからは積極的なリバーストランスレーショナル研究により、次世代の治療法の研究開発に反映させる施策が必要である。例えば、そのためにエビデンスを取得する研究計画や治療計画を、先進医療や患者申出療養等の保険外併用療法として認め、患者負担の軽減による国民の参画・症例数の蓄積、実施される研究・治療の質の向上を図るべきと考える。また、これらの制度を支えるには、民間保険との連携も重要となる。民間保険が定着・発展するためには、疾病リスクが比較的 low、かつ市場規模が大きいこと、さらに多くの国民が当該リスクに直面しうることが前提となる。こうした条件を満たす領域においては、これに対しては、民間保険の発達と活用の検討により、個人の負担をサポートすることが望ましいと考える。

²⁹ 内閣官房「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2025 年改訂版」（2025 年 6 月）

5.3.5.【備考 2】費用対効果評価制度について

「経済財政運営と改革の基本方針（骨太の方針）2025³⁰」では、費用対効果評価制度について、「客観的な検証を踏まえつつ、更なる活用に向け、適切な評価手法、対象範囲や実施体制の検討と併せ、薬価制度上の活用や診療上の活用等の方策を検討する」と記載された。これは、将来的に革新的医薬品の価値を測る手段として、費用対効果評価の適用範囲が拡大される可能性を示唆している。

欧州の医療技術評価制度（HTA：Health Technology Assessment）を分析すると、ドイツ、フランスといった主要な参照国では、再生医療等製品に対して「費用対効果評価」や「経済的 HTA」は適用されていない³¹。その主な理由は、標準的な経済的 HTA では、長期的な経済的・科学的価値など、より広範な要素を柔軟に評価することが困難であるからだ。標準的な経済的 HTA を適用すると、再生医療等製品において著しい薬剤の遅延や損失が生じる可能性がある。

- ドイツ、フランスでは再生医療等製品に対して経済的 HTA は回避されている一方で、臨床的 HTA は、患者報告アウトカム（PRO：Patient-Reported Outcome）を含む臨床的価値の評価に焦点を当てている。しかし、再生医療等製品は非常に複雑であり、ブラインド化、無作為化、エンドポイントの選定、比較対照の選択などに課題があるため、規制当局への申請時点では長期的価値に関するエビデンスが不確実である。そのため、臨床的 HTA であっても、再生医療等製品の長期的、あるいは生涯にわたる便益を十分に捉えるには限界がある。
- 一方、スウェーデンでは、再生医療等製品に対して柔軟性を持たせた経済的 HTA が適用されている。具体的には、増分費用効果比（ICER）や QALY（質調整生存年）、費用便益分析、予算影響評価に柔軟な閾値を設けることで、命を救う再生医療等製品への迅速なアクセスを可能にしている。また、スウェーデンの HTA 制度では「間接的な費用と便益」も体系的に評価に含まれており、再生医療等製品においても好影響を与え、アクセスの促進に寄与している。

³⁰ 経済財政運営と改革の基本方針 2025（2025 年 6 月 閣議決定）

³¹ Drummond M. How are health technology assessment bodies responding to the assessment challenges posed by cell and gene therapy? BMC Health Serv Res. 2023 May 13;23(1):484.

5.3.6.【備考 3】 フランスにおける価格安定性と製造インセンティブによるイノベーション・投資促進

フランスでは、LEEM（フランス製薬工業協会）と CEPS（経済的医薬品価格委員会）との間で締結された枠組み協定（現在再交渉中）により、価格の安定性と製造優遇措置（インセンティブ）の制度が儲けられている。これらのインセンティブは、国内製造の促進、輸出支援、そして高度に革新的な医薬品の価格が他の欧州諸国よりも低くならないようにすることを目的としている³²。

- 革新的医薬品の国内製造を促進するために、ASMR 1～3（既存治療と比較して高い臨床的付加価値があると評価された製品）において、すべての主要な製造工程がフランス国内で行われている場合、価格は英国、ドイツ、イタリア、スペインの中で最も低い価格を下回ってはならないとされている。
- 製品に関連する製造、研究開発（R&D）、デジタルヘルスへの現在または将来の投資が EU 内（特にフランス）で行われる場合、最大 5 年間の価格安定性が付与される可能性がある。
- 輸出を促進するために、EU（特にフランス）で少なくとも 1 つの重要な製造工程が行われ、バッチリリースがフランスで実施され、かつ生産量の 60%以上が輸出される製品には、2 年間の価格安定性（最大 2 年間の更新可能）が付与される可能性がある。
- 多くの ASMR 1～3 に該当する革新的医薬品については、他の欧州諸国の価格を参照して価格が設定され、かつ経済的評価が妥当である場合、市場上市後の最初の 5 年間（その他の場合は 3 年間）において、ネット価格およびリスト価格の安定性が保証される。

日本においても、再生医療等製品の研究開発及び製造を促進し、輸出産業としての発展を支援するため、同様のインセンティブが必要とされる可能性がある。特に、上記のように国内価格が参照する欧州価格を下回らないようにすることは、重要な政策的検討事項となり得る。

³² Smart Pharma Consulting 「Is France Attractive for Pharma Companies?」(2023 年 3 月)

6. 再生医療等製品の普及・持続に向けて必要な対応・政策

再生医療等製品のエコシステム形成に向けた取り組みは、研究・開発・製造および供給の各段階において、政府の施策が一定の推進力を持っていると評価できる。しかしながら、医療保険制度や治療を提供する体制の構築に関しては、依然として十分な整備がなされておらず、再生医療のエコシステムとして円滑な循環を図るには不十分であると考えられる。

提言 1 再生医療等製品の普及を促進する価格制度・診療報酬制度への変革

日本の医療保険制度は、国民皆保険制度の下で運用されており、先進的な治療を受けやすい環境が整っている。日本では価格を抑えることで迅速で広範囲な保険償還が可能となるが、一方欧州では、企業が価格を高く設定しつても費用対効果評価での検証により保険償還が遅れる傾向にあると考えられる。しかしながら、価格が低く設定されすぎる事により、企業の研究開発のインセンティブが低下し、ドラッグラグやドラッグロスに繋がる恐れがある。再生医療等製品が持つ革新性や特徴を反映した制度改革を実行することは、日本が当該分野で世界をリードするための基盤となり、より多くの患者に治療の恩恵を届ける道筋を築くことに繋がるだろう。

再生医療等製品への持続可能なアクセスを確保するには、医療保険制度の包括的改革が必要である。まず、イノベーションを適切に評価する価格設定とともに、市場拡大再算定の見直しを検討する必要がある。一方で、限られた医療資源を効率的に活用するためには、適正使用による過度な投薬の抑制など、医療費を削減する施策も併せて検討していくことが必要となる。

● 有用性評価の十分な価格への反映

再生医療等製品は長期間にわたる臨床的な価値をもたらすのみならず、患者の社会復帰や介護負担軽減など、再生医療等製品がもたらす長年にわたる社会的貢献も期待できる。その長年にわたる時間軸を考慮した貢献を、医療保険制度において十分な補正加算として反映できるよう検討を進めるべきである。また、その制度をインセンティブとし、実臨床におけるデータの収集・分析やリバーストランスレーショナル研究による検証を促進させる必要がある。

● 市場拡大再算定の適用の見直し

再生医療等製品は、従来の医薬品とは異なり、複雑な製造・流通プロセスを経ており、高度で専門的な人材および、知財、施設設備、特殊な品質管理、輸送、さらに市販後の運用に多大な費用がかかる。また、患者ごとに個別化製造を行う再生医療等製品は規模の経済性が働かず、大量生産によるコスト削減は現状では困難である。こうした状況下で規模の経済性を前提とした市場拡大再算定の適用を受けた場合、企業の大幅な収益の悪化が予見され、患者アクセスの継続が困難になる可能性がある。そのため、従来医薬品の規模の経済性を前提とした市場拡大再算定ルールの見直しが必要であり、少なくとも適応拡大等の際に価格が過度に引き下げられない仕組みを整えることで、企業が革新的な治療法を持続的に供給できる環境を維持することが求められる。

● 医療現場におけるコストを適切に反映する診療報酬制度への改善

再生医療等製品の持続的な提供を可能とするためには、医療機関における設備投資や人材育成の支援が欠かせない。このため、診療報酬の設定には、再生医療等製品の提供に必要な人員・設備等の医療提供体制にかかるコストを十分に診療報酬で評価することに加え、医療機関による設備や人材への投資を正当に回収できる仕組みを組み込む必要がある。

提言 2 エコシステムとしての課題のふかんと、次世代のサイクル回転に繋がる施策の継続

再生医療等製品のエコシステムを発展させるには、常にふかんして課題の特定に努め、改善・改良を行い、次世代の技術サイクルをより優れたものにすることが重要である。政府は現在、再生医療等製品の研究・開発・製造および供給体制の構築を強力に支援しているが、一過的な投資のみではエコシステムを維持できない。日本をより魅力的な市場に成長させるためには、規制制度の整備に加え、民間企業による、初期サイクルで得られた収益の再投資と、バイオ産業育成の観点からの政府投資資金のさらなる拡充の両立が不可欠である。

● ステークホルダーの連携の強化のための施策の推進

革新的な技術開発においては、研究成果を迅速かつ効率的に市場に導入することが重要である。そのためには、橋渡し研究が重要な役割を担う。政府および各省庁は大学発の技術を導出や、スタートアップ企業に移転させて技術開発を支援する施策を推進し、迅速な製品開発を後押しすべきである。

より円滑な再生医療等製品の提供のためには、治療提供施設と患者紹介元施設を効果的に結びつける制度の構築やネットワークの強化が急務である。医療機関の連携を強化し、再生医療等製品を必要としている患者が迅速かつ適切に治療を受けられるよう、診療ガイドライン上の位置づけを明確化し、患者紹介のインセンティブを強化しネットワークの構築を進めるべきである。

患者の認知度の向上とアクセスの確保のためには、患者団体、学会、医療機関、開発企業各社が連携し、疾患および免疫細胞療法を含むさまざまな治療選択肢に関する最新の情報を共有・議論できる場を構築し、包括的で理解しやすいガイドランスを作成することが効果的であると考えられる。

また、実診療に基づくデータから得られるエビデンスは、蓄積され、次世代の研究開発に還元されるべきである。治療提供施設・アカデミア・開発企業、および患者の参画により、再生医療等製品の長期間に渡る価値を検証しつつ、再生医療等製品のさらなる発展に寄与する土壌を醸成していくべきと考える。

● コスト削減に向けた取り組みと基盤整備の継続

再生医療等製品の製造、品質管理および供給は、依然として産業化の初期段階にあり、多くのプロセスが高度な人材による手作業に依存しているため、製造コストが高額となる状況が続いている。しかし、製造の自動化やロボティクスの活用等の技術進歩に伴い、将来的にはコスト削減が見込まれ、より多くの患者が様々な疾患において再生医療等製品による新たな治療機会の恩恵を享受できると考えられる。

政府はその将来を目指して、専門性の高い人材の育成や施設整備の推進、サプライチェーンの高度化を図る基盤整備を図り、国内のエコシステムの構築、およびアジア諸国への展開拠点としての確立を目指すべきと考える。

ホワイトペーパー 革新的な再生医療等製品の持続可能なエコシステムの確立に向けて
2025年7月29日

[著者]

株式会社日本総合研究所 リサーチ・コンサルティング部門 ヘルスケア・事業創造グループ
野田 恵一郎、川内丸 亮介、中塔 充宏、野崎 雪乃、川崎 真規、南雲 俊一郎

[共著者] (順不同)

小黒 一正 法政大学 経済学部 経済学科 教授
豊嶋 崇徳 北海道大学大学院 医学研究院 内科学分野血液内科 教授
中村 洋 慶應義塾大学大学院 経営管理研究科 教授
八代 嘉美 藤田医科大学 橋渡し研究支援人材統合教育・育成センター 教授

[協賛]

プリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社

※ 本ホワイトペーパーの策定は、プリストル・マイヤーズスクイブの協賛を受けて作成したものである。

※ 本提言は提言策定チームの見解であり、日本総研の公式見解を示すものではない。