



2025/7/29

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

目的

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し、
持続可能な再生医療等製品のエコシステム確立を提言する

ホワイトペーパー（提言書）の狙い

- 再生医療等製品の臨床的および社会的価値の認識向上
- 再生医療等製品の普及に、研究開発と製造供給、医療保険制度、治療が一体となったエコシステムを構築が必要であることの提示
- 様々な課題の抽出、機会の探索
- 日本における持続可能な再生医療等製品のエコシステム確立を支援する政策案の提示



ホワイトペーパーの共著者

株式会社日本総合研究所

小黒 一正 先生 法政大学 経済学部 経済学科 教授

豊嶋 崇徳 先生 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 先生 慶應義塾大学大学院 経営管理研究科 教授

八代 嘉美 先生 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

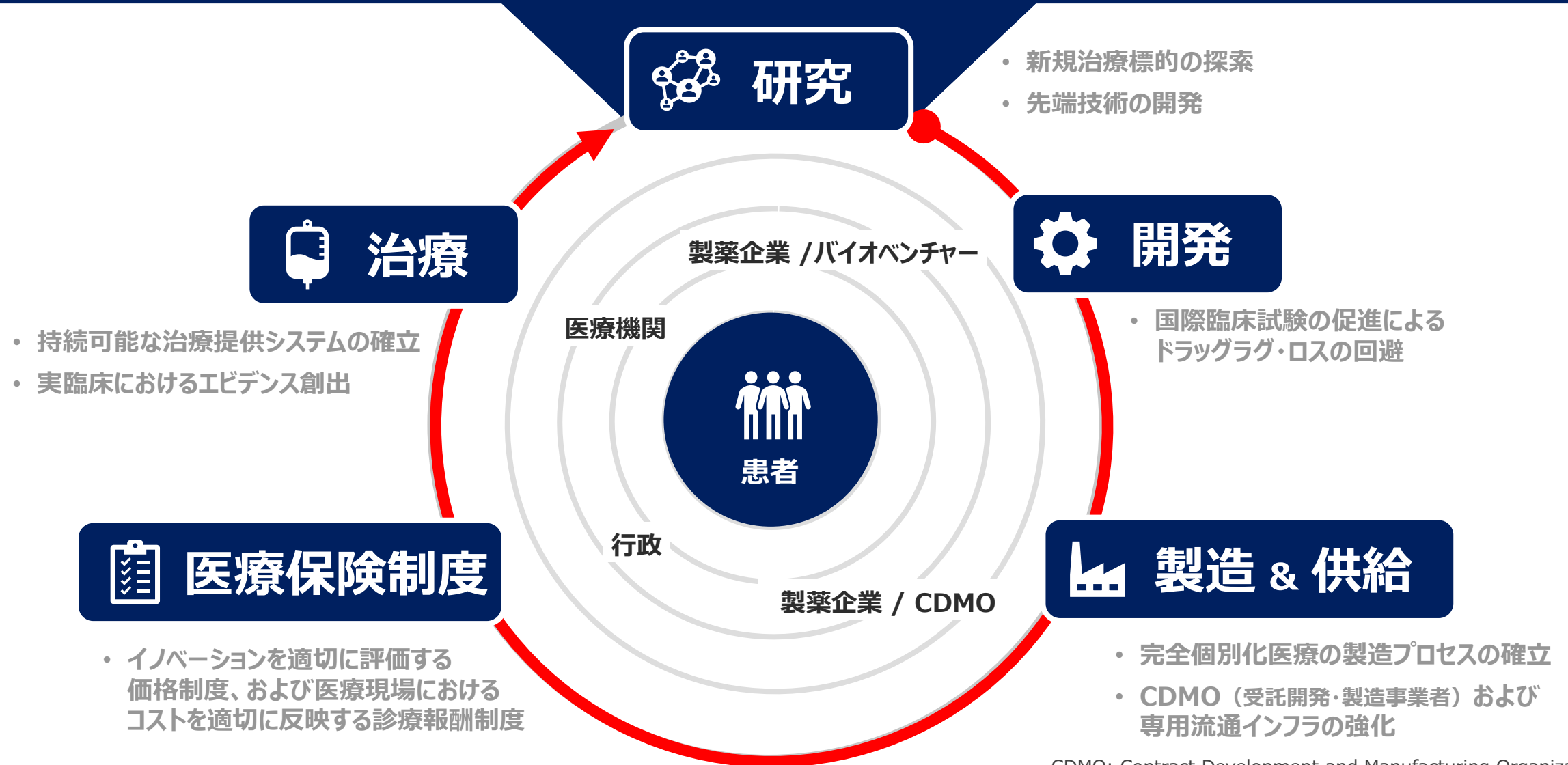
協賛： Bristol・マイヤーズ スクイブ株式会社

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

- 1 再生医療等製品のエコシステム構築の必要性と期待される効果
- 2 CAR-T細胞療法の臨床的および社会的価値
- 3 CAR-T細胞療法の開発と製造における課題と機会
- 4 CAR-T細胞療法の医療保険制度と治療における課題
- 5 再生医療等製品の普及・持続に向けて必要な対応・政策

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

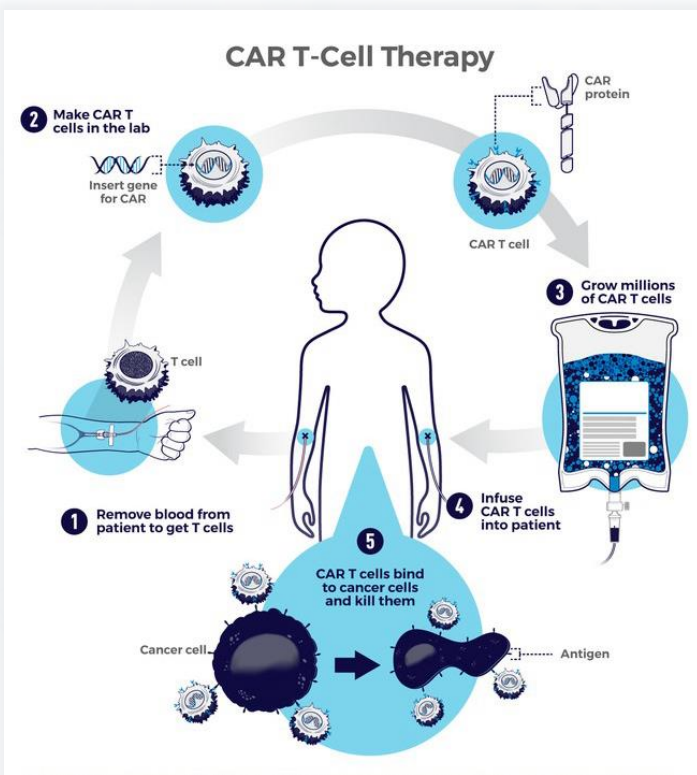


CDMO: Contract Development and Manufacturing Organization

CAR-T細胞療法の臨床的および社会的価値

- 再生医療等製品の事例

患者の生活を大きく変える完全な個別化医療



CAR-T細胞療法は、
患者自身のT細胞を採取後、
がん細胞を認識し攻撃するよう
T細胞の**遺伝子を改変し**、
患者に再び投与する治療法

一度の投与によって
根治に導く可能性

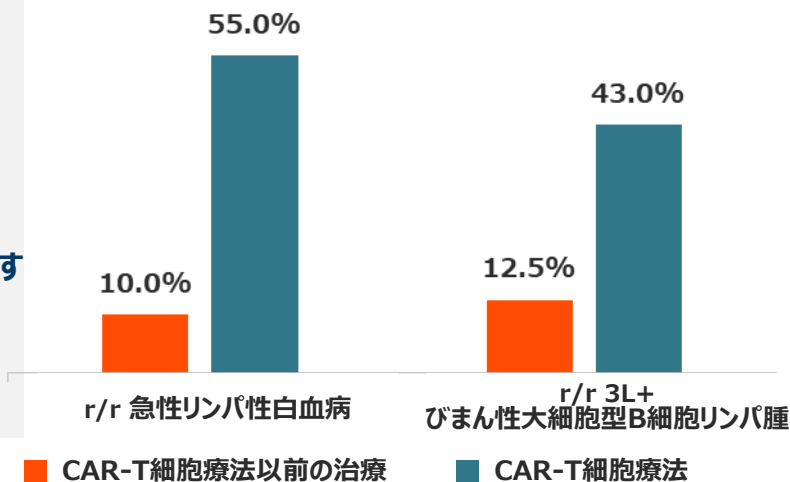
長期の入院・介護費用などの
医療資源を削減

患者の**社会復帰・経済活動への
復帰を支援**する可能性

CAR T-Cell Therapy: Image Details - NCI Visuals Online

革新的な治療選択肢の提示

CAR-T細胞療法の
5年生存率は、
**従来の治療と比較し
大幅な予後の改善を示す**
1-4



- 血液がんに対する治療の後期介入から**早期介入への移行**を進めており、**固形がんを対象とした試験が進行中**⁵
- 免疫学や神経学を含む**新しい疾患領域へと拡大**

Abbreviations: DLBCL: Diffuse Large B-cell Lymphoma; OS: Overall Survival; R/R ALL: Relapsed/Refractory Acute Lymphoblastic Leukaemia

出所: 1. ACGT 2022; 2. Gilead 2021; 3. Crump et al. 2017; 4. Neelapu et al. 2023; 5. Patel et al. 2021を基に日本総研作成

CAR-T細胞療法の臨床的および社会的価値の重要性

CAR-T細胞療法は、従来治療とは異なる革新的な臨床的・社会的価値を有する。



臨床的価値 ¹⁻⁵

重篤な疾患の
根治

希少疾患の
根治

長期的な
無治療状態の継続

確立された
安全性プロファイル

1度の投与
で完了

- 臨床試験の結果、CAR-T細胞療法は、**重篤な疾患の根治や長期的な無治療状態を達成**する可能性を有する
- 臨床試験の結果、CAR-T細胞療法は、**1度の投与で非常に高い治療効果**が得られる
- 製造販売後臨床試験データにおいても、CAR-T細胞療法は**高い奏効率、生存率**を示している
- CAR-T細胞療法による**副作用プロファイルおよびその対処法は確立**されている
- CAR-T細胞療法の開発を進めることで、これまで治療が困難であった**様々な疾患の革新的な治療薬**となる可能性がある



社会的価値 ⁶

患者の
社会復帰が可能

患者の
負担軽減
QOL向上

患者及び家族の
労働生産性向上

ケアギバー及び
医療機関の
負担軽減

- CAR-T細胞療法は、短期間の治療で、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ため、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する。加えて、家族やケアギバー、患者が勤める組織や医療機関など、間接的に社会における負担の軽減に貢献する。
- CAR-T細胞療法は、1度の投与による個別化医療であり、長期の通院・介護・入院費用などの医療資源の消費を抑制することで、社会における経済的な価値を高める。

出所： 1. BMS「TRANSCEND trial」; 2. Gilead Sciences 2021; 3. Neelapu et al. 2023; 4. Abramson et al. 2023; 5. Crombie 2023; 6. Alliance for Regenerative Medicine 2020 を基に日本総研作成

日本での再生医療等製品のエコシステム構築により期待される効果

これまで

再生医療等製品の普及により達成される社会

患者

長期的な入院・療養
社会復帰が限定的

**1度の投与で高い治療効果、根治の可能性
早期の社会復帰により、従前と変わらぬ生活へ**

- 有効性の向上や適応拡大により、治療が困難であった疾病に対し、治療の選択肢が増える。
- 長期間の投与・ケアと比較し、患者への身体的・精神的負担、経済的負担が軽減される。
- 患者家族の日常生活における介護の身体的・精神的な負担が軽減される。

社会

家族、ケアギバー、社会の
負担大

労働生産性を向上し、経済活動を支援

- 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する。
- 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る。
再生医療等製品は患者自身のみならず、家族、ケアギバー、患者が勤める組織、医療機関等も含む社会の負担を軽減することにより、経済活動に貢献する。

産業

産業として発展途上であり
市場としても未確立

雇用の創出・高度人材の育成 日本がハブとなりアジア諸国へ展開

- 高度人材の育成・集約化が、地場産業も巻き込んだ医療産業の発展を促し、地域経済の活性化に寄与する。
- 産学連携による基幹技術・関連技術の研究開発・実用化により、新たな産業や医療技術の向上、雇用の創出に繋がる。
- 日本が再生医療の研究開発や実用化について世界でも有数の先進的取組を行うことができる環境と認知され、活動拠点の誘致に貢献し、地域や国全体の経済再生、輸出産業としての外貨獲得に貢献する可能性がある。

再生医療等製品の持続的な患者提供を目指したエコシステムの改善点

カテゴリ	成功している点	改善点
研究	重点的な研究対象として多額の研究費が投下（基礎研究は世界トップレベル）	国際共同臨床試験促進によるドラッグラグ・ロスの回避 日本で承認された再生医療等製品：欧米の40%未満¹ 日本で第Ⅲ相試験中の再生医療等製品：欧米の20%未満¹
開発	政府による骨太方針2025 再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備の推進	
1 製造&供給	経済産業省による 再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業 “CDMO（受託開発・製造事業者）の国内受託製造拠点の整備や製造人材育成に対する補助を行う”	- 将来の研究開発のイノベーションをサポートする 国内製造拠点・CDMO及びサプライチェーンへの投資促進 - 高度な科学知識を持つ専門家の雇用創出と育成
2 医療保険制度	国民皆保険制度において承認後、短期間で保険償還	イノベーションを適切に評価する価格制度、および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
3 治療	全国的に高度な再生医療等製品を用いた医療を提供できる治療施設が存在	必要とする患者が革新的な治療を享受し続けるため、治療施設の人的リソースと施設・設備リソースに対する適切な支援

出所：FIRM 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料（2023年7月）を基に日本総研作成

詳細分析 1

製造および供給の課題

CAR-T細胞療法は完全個別化医療であり、これらの製造及び供給は、従来の医薬品とは異なり非常に複雑である

現状、米国が先行しているが、日本は、課題解決によってアジアの製造及び供給のハブとなる機会がある

CAR-T細胞療法 製造プロセス



完全個別化医療であり
規模の経済は存在しない

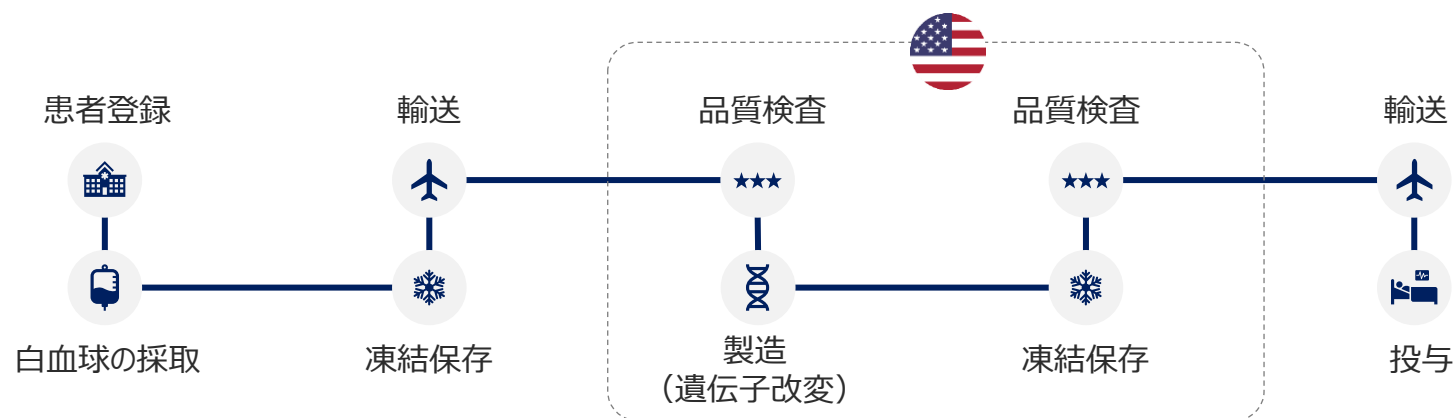


専門的な施設と設備



高度な技能と教育を
受けた労働力³

CAR-T細胞療法の製造プロセスは、複雑な一連のステップで構成^{1,4}



① 全体を通じて、更に**500以上のプロセス**が存在⁵

CAR-T細胞療法 供給プロセス

- 患者由来の生きている細胞は、**特殊な条件下**での保存および輸送が必要^{1,6}
- 供給不足に直面している**高価な原材料**（GMPグレードのウイルスベクター）の調達が必要^{1,7}

GMP: Good Manufacturing Practice

出所：1. McKinsey & Co. 2019; 2. Wang et al. 2016; 3. Ho et al. 2022; 4. Abbasi et al. 2022; 5. BMS DoF 2022; 6. Moutsatsou et al. 2019; 7. FiercePharma 2021を基に日本総研作成

詳細分析 2 & 3

医療保険制度および 治療体制の課題

価格算定及び再算定制度、診療報酬費用における医療保険制度は、従来の治療法とは異なり、研究開発、製造と供給、治療提供体制への投資を考慮する必要がある

医療保険制度



再生医療等製品の 価格算定及び再算定制度



規模の経済性が働かない

- 完全個別化の複雑な製造プロセス
- 大量生産が不可能



世界的に限られた製造・供給体制

- アジアでの体制構築は遅れており、日本への供給も限定的



多額の投資が必要

- 臨床試験および上市後の製造において、多額の初期および継続的な投資が必要



高い品質管理能力と人的リソースが必要

- 研究開発および製造では、専門的で高度な教育を受け、経験を積んだ人材が不可欠



治療提供施設にかかる 診療報酬制度



施設及び設備リソース

- CAR-T細胞療法のための病床への投資が必要



特別な施設要件

- 採取、投与およびモニタリングのための高価な医療機器の購入と維持が必要



人的リソース確保と人材育成

- 副作用管理を含むCAR-T治療提供の高度な知識・技術を持つ医療従事者が必要

Abbreviations: ICU: Intensive Care Unit

出所 : 1. Gagelmann et al. 2022; 2. Buechner et al. 2018; 3. EBMT 2019を基に日本総研作成

再生医療等製品の持続的な患者提供を目指したエコシステムの改善点

カテゴリ	成功している点	改善点
研究	重点的な研究対象として多額の研究費が投下 (基礎研究は世界トップレベル) 政府による骨太方針2025 再生医療等の研究開発の推進及び 同分野に係る産業振興拠点の整備の推進 経済産業省による 再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業 “CDMO（受託開発・製造事業者）の国内受託製造拠点の整備や 製造人材育成に対する補助を行う”	国際共同臨床試験促進によるドラッグラグ・ロスの回避 日本で承認された再生医療等製品 : 欧米の40%未満¹ 日本で第Ⅲ相試験中の再生医療等製品 : 欧米の20%未満¹
開発		
製造&供給		将来の研究開発のイノベーションをサポートする 国内製造拠点・CDMO及びサプライチェーンへの投資促進 高度な科学知識を持つ専門家の雇用創出と育成
医療保険制度	国民皆保険制度において承認後、短期間で保険償還	イノベーションを適切に評価する価格制度、 および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
治療	全国的に高度な再生医療等製品を用いた医療を提供できる 治療施設が存在	必要とする患者が革新的な治療を享受し続けるため、治療施設の 人的リソースと施設・設備リソースに対する適切な支援

出所：FIRM 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料（2023年7月）を基に日本総研作成

現行の価格算定および価格改定の課題と改善点

再生医療等製品の長期的な有効性を踏まえ、長期間の時間軸を考慮した価格制度の検討が必要である

課題

長期にわたる臨床的価値と社会的価値が反映されていない

再生等医療製品は長期間の臨床的な価値をもたらすことが期待されるが、申請迄の期間では十分に証明することが不可能であり、価格算定時に反映できない。

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社会的貢献も期待できるが、社会的価値は反映されていない。

改善点

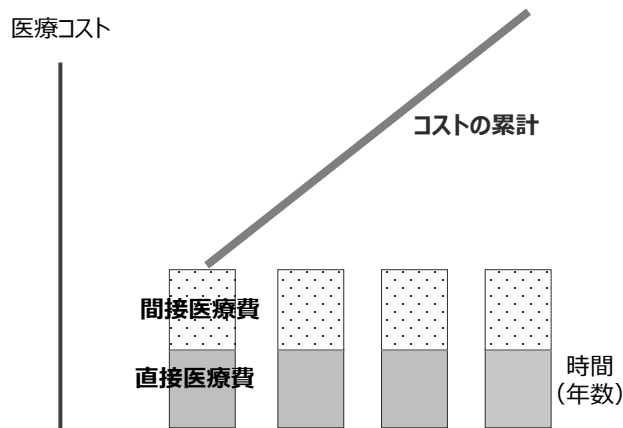
有用性評価の十分な価格への反映

長期間にわたる臨床的価値や社会的価値の検証を促進するため、市販後の有効性・安全性に対する評価が十分に価格に反映される加算制度を検討すべき。それをインセンティブとし、実臨床におけるデータの収集・分析基盤を整備し、リバーストランスレーショナル研究を促進させるべき。

治療経過による医療コストの推移 (イメージ図)

従来の医薬品

複数の治療の度に治療費及び労働損失コストが発生する

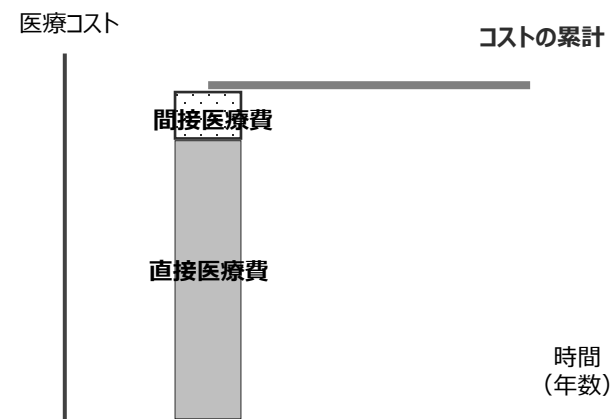


直接医療費：治療に直接関わる費用

間接医療費：医療行為には直接結びつかない、関連して生じる費用

再生医療等製品

一度きりの治療のため継続的な治療および労働損失コストは生じない



例：外来費、入院費、検査費用、薬剤費 等

例：病院への交通費、介護費、労働機会損失 等

現行の価格算定および価格改定の課題と改善点

再生医療等製品は少量生産の繰り返しのためコスト削減は不可能であり、製造上の特徴を考慮した価格制度の検討が必要である

課題

個別化製造による製品は 規模の経済性が働かない

従来の医薬品は、製造数量に応じてコスト削減が可能であり、規模の経済性を前提とした市場拡大再算定が導入。

再生医療等製品は複雑で個別化された製造工程を必要とし、供給患者数が増加しても個別製造と輸送・供給ラインの増強が必要。大量生産によるコスト削減は不可能。

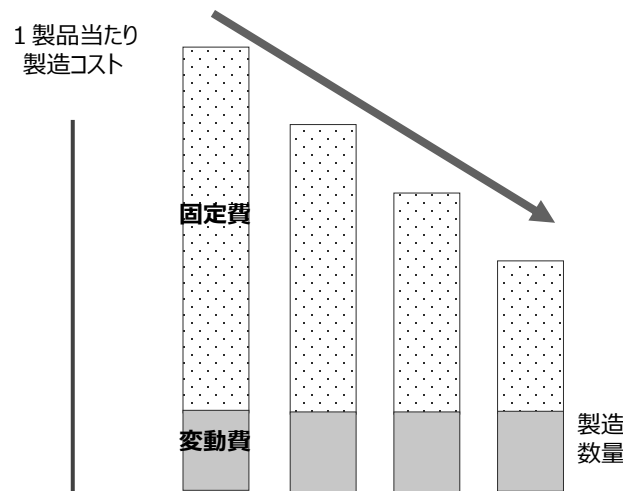
世界的な供給が限られる中、日本の患者に対する持続可能な供給確保は重要であるが、価格が抑えられる場合、製造の優先順位判断から患者アクセスの継続が困難になる。

改善点

製造数量による1製品当たり製造コストの推移 (イメージ図)

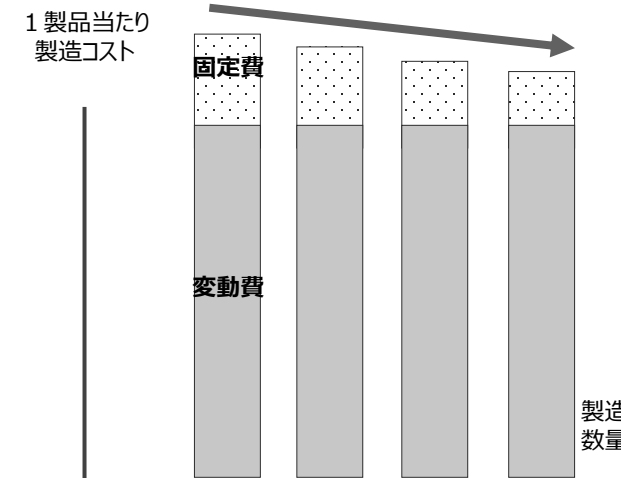
従来の医薬品

製造数量に応じて固定費が下がり
スケールメリットが生じる



再生医療等製品

少量生産の繰り返しとなり
大きなスケールメリットは生じない



市場拡大再算定ルールの見直し

規模の経済性が働かない、複雑で個別化された製造工程を必要とする再生医療等製品については、日本の患者に対する持続可能な供給確保の観点からも、過度に価格が引き下げられないように市場拡大再算定ルールの見直しが必要。

再生医療等製品と従来医薬品のコスト構造の違い

		再生医療等製品	低分子医薬品・バイオ医薬品
研究開発	規制	日本の規制（カルタヘナ等）が障壁	ICHにより国際的に調和
	特許	多くの特許が関連（ライセンス料増）	物質特許で保護
製造	人材	高度技術を持つ人材が少なく、育成の必要性が高い	豊富
	医療機関	製造の起点として細胞の採材等が必要	－（医療機関で採材は不要）
	製造	- 高額な原材料（GMPLレベルのベクター等）が必要 - 商業的観点の導入、産業との連携が必要 - モダリティごとのGCTP省令に準拠した専用設備投資が必要 - 大量生産できず規模の経済が働かない	- 設備を同じモダリティに流用可能 - 関連産業は限られている - 大量生産可能で工業的
	品質	- 細胞や遺伝子の均質化が困難 - 多様かつ多段階の品質保証試験（マーカー発現、ウイルス検査）	- 均質化が容易 - 品質保証試験は一定程度
流通	輸送	専用の輸送インフラ（-150℃など）が必要	通常設備で輸送可能
投与	医療機関	- 専門施設に限定され、医師の手技に依存（講習費用等） - 医療機器算定の販管費上限が課題	広く使用
	対象患者	- 希少疾患のため少ない - 自家細胞は完全個別化医療	生活習慣病を含め比較的多い

出所：厚生労働省 中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 再生医療イノベーションフォーラム 意見陳述資料（2025年7月）を基に日本総研作成

現行の薬価制度の論点

我が国の医療給付費は2025年度には約60兆円に達する見込みであり、少子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、単価や数量の抑制にて対応を重ねているが、製薬企業や関連産業の収益が圧迫される可能性が高まり、将来的には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。

これを解消するための大きな方向性として、創薬イノベーション再興の会から、以下の3点が提案され、議論されている。

医療給付費の総予算を 経済成長率にて管理

(医療給付費内で)
価値の高い医療を評価する仕組み

(医療給付費内で)
価値の低い医療を退出させる仕組み

総薬剤費名目成長率保証調整メカニズムの導入

- ・ 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。
- ・ 財源枠の上限と下限をあらかじめ数値で示すことで、革新的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薬価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べき。
- ・ 名目GDP成長率にはGDPデフレーター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な反映が可能。

多様な価値を評価し、薬価に反映させる仕組みの導入

- ・ 実質的に Cost と QALY のみの求心的な運用となっている現在の不透明なプロセスを検証・改善し、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べき。

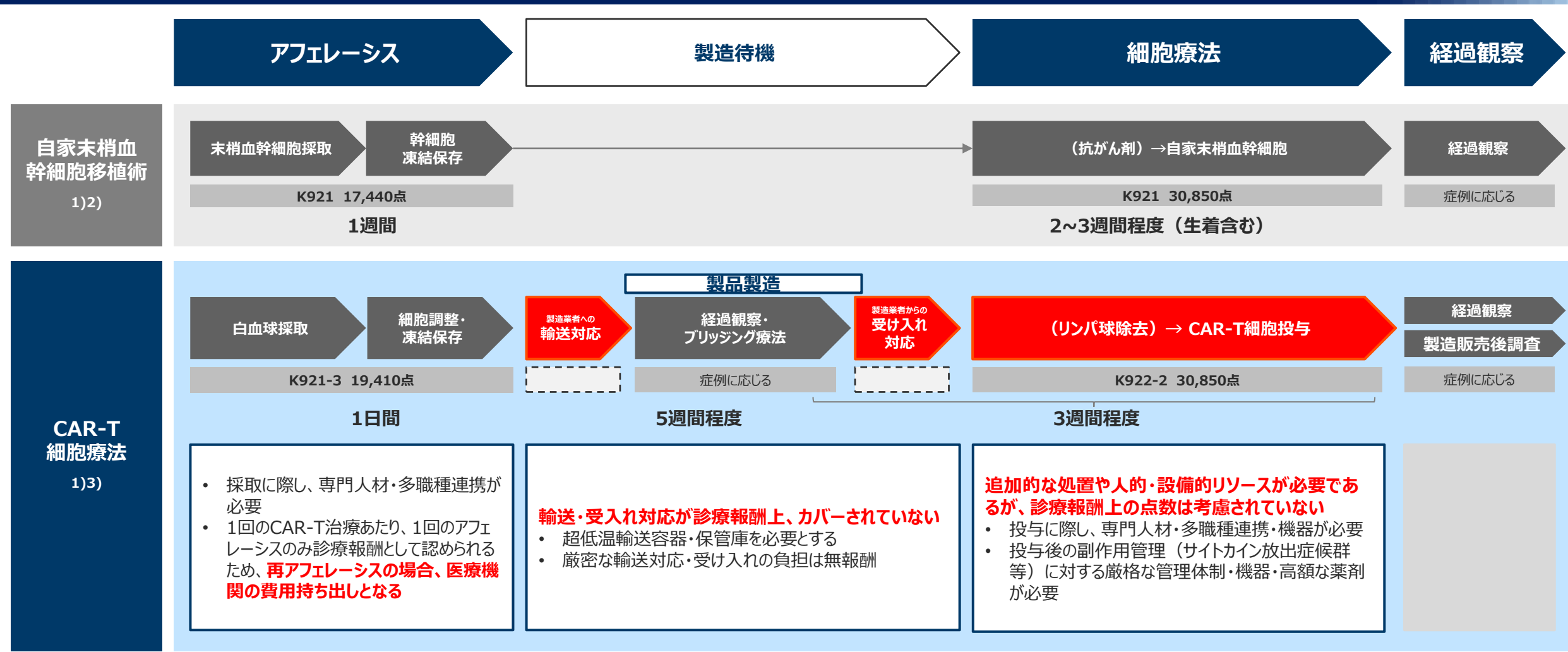
「価値の低い医療」区分の導入

- ・ 新費用対効果制度と連動させ、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「ローバリュー医療」として分類し、代替治療の提示とともに段階的な点数縮減や保険退出を進めるべき。

出所：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）を基に日本総研作成

現行の診療報酬制度の課題 | 自家末梢血幹細胞移植との比較

CAR-T細胞療法は、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ある。



出所：1)厚生労働省 医科診療報酬点数表、2)日本赤十字社 姫路十字病院「造血幹細胞移植について」、3)BMS「CART療法を受けられる患者さんのためのQ&A」を基に日本総研作成

CAR-T細胞療法における患者アクセスの課題と対策案

より多くの患者に最適なタイミングでCAR-T細胞療法を提供するためには、現状の制度や医療機関間のネットワークを改善する必要がある。



1 診断～初期治療～再発

課題 仮説

- 患者：
- 日常生活への大きな変化、不安、疾患の経過や予後、および治療選択肢の情報が不足

2 CAR-T細胞療法へのアクセス～治療～経過観察

- 患者：
- 転院による環境変化、副作用への不安
 - 提供可能施設が都市部の一部医療機関に限定、地方在住患者のアクセスが困難
 - 過密のためアフェレーシスが順番待ちの状態
 - フォローアップ体制への不安
- 医師・医療機関：
- 地域間で医療資源が偏在
 - 医療機関同士の連携、円滑な診療情報の提供負担、患者紹介等に対するインセンティブが不十分
 - アフェレーシス部門の負担増加（これまで自家末梢血幹細胞採取のみだったが、機器、人材等の増加がないままCAR-T採取が加わった）
 - 米国の診療ガイドラインと比較し、CAR-T細胞療法の位置づけが曖昧

対策案

- 疾患や、多様な治療選択肢への理解、免疫療法全体（抗体医薬、CAR-T含む）の認知のための
患者への啓発活動の推進
例）学会・患者会等に対する患者への情報提供支援、患者向け冊子・ホームページ、CAR-T治療経験患者の体験談共有

- 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、提供可能施設への人的・資金的サポートの拡充**
- 患者、学会、医療機関、開発企業各社で最新の治療法・製品の情報を共有・議論できる場の構築
- 医療機関同士の連携を円滑にするネットワークの改善、**専門コーディネータの配置の推進**
例）造血幹細胞移植では、医療機関同士の連携及び患者へのケアを行うコーディネータが配置
- 最適な治療選択のための、診療ガイドラインにおけるCAR-T細胞療法の位置づけの明確化

【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、PMDAにより正式承認を得ている製品とは区別し、有効性の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。
- 現状、保険外診療（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、十分にエコシステムに活用されていると言い難いが、今後、積極的なリバーstrans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。
- 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低く、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。

【備考2】 費用対効果評価制度について

「骨太の方針2025」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。

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。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ためであり、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。
- ただし、欧州で唯一の例外がスウェーデンであり、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。

【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。

- 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、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。

出所: Drummond et al. 2023を基に日本総研作成

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

現行の医療保険制度が、現在の日本におけるエコシステムの形成・循環を阻害している。

アカデミア、産業界、政府の議論の場を設け、再生医療等製品の特長を踏まえた制度設計の議論を進めるべき。

限られた医療資源を効率的に活用するためには、価値の高い医療技術を評価する一方で、適正使用等により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。

価格制度

有用性評価の十分な価格への反映

- 再生等医療製品は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、社会的貢献も期待できる。
長期間にわたる臨床的価値や社会的価値のリバーストランセーション研究による検証を促進するために、市販後の有効性・安全性の評価が十分に価格に反映される制度について、具体的に検討を深めるべき。

市場拡大再算定の適用の見直し

- 再生医療等製品は従来医薬品とは異なり、複雑で個別化された製造・供給体制に多大な費用を要する上に、規模の経済性が働かず、大量生産によるコスト削減は不可能。現行の市場拡大再算定は規模の経済性が働くことを前提にしており、その適用を受けた場合、患者アクセスの継続が困難になる。
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ため、市場拡大再算定ルールを見直すべき。

診療報酬制度

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

- 再生医療等製品の提供に必要な医療提供体制にかかるコストを十分に現行の診療報酬でカバーすることに加え、医療機関が設備や人材への投資が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俯瞰と、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、常に俯瞰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。

ステークホルダーの 連携強化推進

研究 開発

- ・ 革新技术を効率的に市場に導入するためには橋渡し研究が重要。政府は大学発の技術を支援し、スタートアップを含む企業への技術移転を推進する施策を行うべき。
- ・ 実診療から得られるデータは次世代の研究基盤となり、治療提供施設とアカデミア・開発企業の連携はもちろん、患者の参画も重要な要素となる。

治療

- ・ 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やネットワークの改善が急務。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、診療ガイドラインの明確化や患者紹介のインセンティブの強化を推進すべき。
- ・ 患者の参画を促すためには、認知度の向上とアクセスの確保が不可欠であり、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様々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ダンスを作成することが効果的。

コスト削減 基盤整備

製造 & 供給

- ・ 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、製造コストが高い状況が続いているが、技術の進歩に伴い、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進めるべき。

日本での再生医療等製品のエコシステム確立による恩恵

再生医療等製品の普及により、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で国際的な競争力も強化される。

日本の医療環境

- ・ 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で、世界的な製造制約に対処し、持続的な供給を可能とする。
- ・ 重篤な疾患の治療の早期段階から患者アクセスを可能にすることで、日本の患者や家族の人生に大きな変化をもたらす。
- ・ 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ある。

日本の人材活躍

- ・ エコシステムの構築により、日本の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。
- ・ 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できる。
- ・ 重篤な疾患が根治した患者や家族が社会活動に復帰し、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

- ・ 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。
- ・ 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につながり、アジア諸国および世界的にも影響力が拡大する。