

# Deloitte.

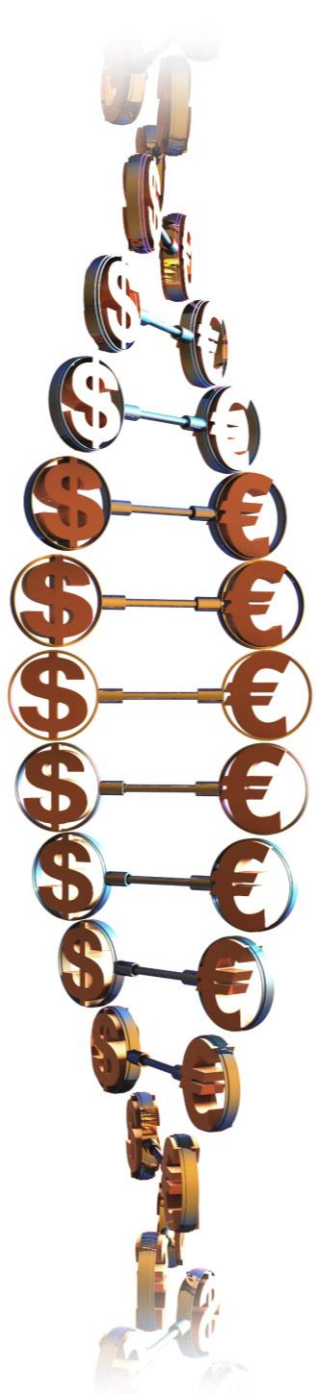
デロイトトーマツ



## Cell & Gene Therapy領域における 日本の薬価・保険制度の考察

部門間協力に取り組む日本市場の課題

デロイトトーマツ コンサルティング合同会社  
2024年1月



# はじめに

近年、Cell & Gene Therapy（細胞・遺伝子治療、以下CGT）の上市に伴い、新たな治療規範や販売方法の構築が求められている。これまでの記事では、CGT製品の上市に伴い必要となるビジネスモデルやそれを支えるデジタルプラットフォームについて考察した。本稿では、CGT製品の上市を取り巻く制度面の課題に光を当てたい。

米国ではCGT製品の開発・当局承認が進んでいる一方で、日本では承認製品の数が少ない\*1。その要因の一つと考えられる薬価・保険制度に焦点を当てて、考察を深めたい。

CGT製品を取り巻く薬価・保険制度は上市に関係する全ての部署が連携、協力して解決すべき課題が多く含まれており、上市に関わる方には部門に関係なく是非ご一読頂きたい。

\*1: 出典: p.8-13 : Cell, Gene, & RNA Therapy Landscape (asgct.org)

# 目次

日本でのCell & Gene Therapy領域の製品上市が進まない要因	04
日本の薬価・保険制度（診療報酬）上の課題 [物の評価編]	06
日本の薬価・保険制度（診療報酬）上の課題 [技術・サービスの評価編]	08
おわりに	09
執筆者	10



# 日本でのCell & Gene Therapy領域の 製品上市が進まない要因

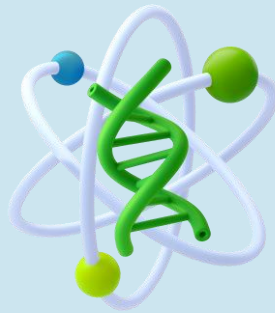
日本でCGT製品の上市が進まない主な要因は、以下の3つに大別されると考えている。

それぞれの要因を簡単に説明したうえで、今回はCの薬価・保険制度（診療報酬）上の課題について解説する。

A. 

技術・基盤施設上の  
課題

厳格な時間制限・  
運搬条件による課題



B. 

規制・薬事承認上の  
課題

開発支援・早期承認制度  
における課題

今回のテーマ

C. 

薬価・保険制度  
(診療報酬) 上の課題

診療報酬の考え方・  
設定条件に関する課題

A. 

## 技術・基盤施設上の課題

- ✓ 例えば自家移植用の細胞を培養する場合、採集から投与までの時間に制約がかかる製品もあるが、日本では治療のための長距離の移動や他地域への一時的な転居は一般的ではないため、各都道府県の拠点病院を治療実施施設とすることが多い。従って、時間制限・運搬条件などがある製品の場合、その運搬ルートおよびルート上における一貫した温度管理などが十分に確保できないなどの課題が生じ得るだろう。
- ✓ 一方、治療拠点をナショナルセンターなど日本国内で1、2か所の中央拠点に絞った治療を検討する場合は、患者の交通費や宿泊費が保険適用、あるいは製薬企業の負担となるかどうかの判断が必要となる。製薬企業が負担できない場合、早期に政府関係者ら Key Opinion Leader (KOL) を巻き込み、患者がCGT製品にアクセスしやすくなるよう、コスト分担（保険償還など）についてディスカッションし、CGT領域に関わるステークホルダー間で合意を取る必要があると考える。米国やヨーロッパ各

国などの先進国では、当局による関連政策の改定が積極的に進められており、CGT製品に関わるコストやリスクが各ステークホルダー間にてより均一な仕組みが構築されつつある\*1。



\*1: 出典：Cell and gene therapy regulatory, pricing, and reimbursement framework: With a focus on South Korea and the EU - PMC (nih.gov)

## B.

### 規制・薬事承認上の課題

- ✓ 米国と比較して、日本ではCGT製品の開発・承認のハードルが高いことが挙げられる。カルタヘナ法の締約国である日本では、遺伝子組み換え生物の使用や輸入、流通が厳しく制限されており\*1、試験および使用にあたっては、遺伝子組み換え生物の種類毎に審査、申請かつ承認される必要がある\*2。一方、米国はカルタヘナ議定書の作成当初から批准していない。加えてCGT製品の研究開発をさらに加速すべく、Regenerative Medicine Advanced Therapy Designation (RMAT) として認定された製品に対し、早期承認に繋がる“Expedited Approval”など、様々な支援プログラムの適応が増加傾向にあり、関連規制の適宜緩和が見られる\*3。これらの取組みにより、米国Food & Drug Administration (FDA) は2025年迄に毎年10-20件の新規CGT製品の承認を目標として掲げている\*4。
- ✓ 日本においても、規制面・倫理面などの様々な観点からCGT製品の研究開発を支援すべく、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) による「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」が進められている。また、早期の承認・臨床応用に向け、医薬品医療機器総合機構 (PMDA) からCGT製品に対する「条件及び期限付き承認」制度が適応されている。しかしながら、新規医薬品の承認プロセスの全工程を担う米国のFDAと異なり、PMDAは新薬承認権限を所持しておらず、最終承認は厚生労働省に委ねられている。

- ✓ 1つのCGT製品が上市されるまでにFDAが一元監督・サポートする米国の体制に対し、日本ではAMEDからPMDA、そして厚生労働省といったプロセスを強いられ、各機関間での情報伝達に要する時間や労力、細かな方針の相違などによる手戻り作業などが生じてしまう。結果として、プロセス全般を通して継続的な支援・フォ

ローアップを提供する仕組みが確立できていない、言い換えると、探索研究から承認および臨床応用迄の一貫した支援や加速策が十分に備えられていないと考える。日本国内における素早いCGT製品上市の実現に向けて、関係機関におけるより積極的な連携、規制構築および必要に応じた早期改定が求められる。



\*1: 出典：カルタヘナ法とは：農林水産省 (maff.go.jp)

\*2: 出典：000245752.pdf (pmda.go.jp) (PMDA視点の再生医療製品におけるカルタヘナ法の考え方)

\*3: 出典：Framework for the Regulation of Regenerative Medicine Products | FDA

\*4: 出典：Statement from FDA Commissioner Scott Gottlieb, M.D. and Peter Marks, M.D., Ph.D., Director of the Center for Biologics Evaluation and Research on new policies to advance development of safe and effective cell and gene therapies | FDA

## C.

### 薬価・保険制度（診療報酬）上の課題

- ✓ 自由に薬価を決定できる米国と比較して、日本では薬価が低く設定される印象をお持ちの読者もいると推察する。適切な薬価設定により製薬企業・病院側が良好な収益バランスを保ち、適切な保険制度でより多くの患者が最先端かつ最適な治療にアクセスしやすくなるなど、薬価・保険制度（診療報酬）上の課題を解消することがCGT製品に関わる各ステークホルダーにメリットを創出することとなり、研究開発から上市販売にわたるCGT領域全体の更なる活性化に繋がると考えるため、本稿では「診療報酬 = 物の評価 + 技術・サービスの評価」と捉えて、物の評価と、病院側が提供する技術・サービスの評価に分けて課題を深掘りしたい。



# 日本の薬価・保険制度（診療報酬）上の課題

## [物の評価編]

諸外国と比較し、日本で薬価が低く設定される理由として、我々は「医薬品の評価の観点」が異なる点大きいと考えている。現状、日本においては、類似薬効比較方式、もしくは原価計算方式によって薬価が算定されるが、CGT製品の場合は類似薬が存在するケースが少ないため、原価計算方式が採用される製品が殆どである。

原価計算方式とは、一般的に製造・輸入原価、販売費・一般管理費、営業利益、流通経費、消費税などを用いて計算した開発コストをベースに薬価が決定される方法であり、フランスが類似の方法で薬価を決定している。しかし、他の欧米諸国においては、異なる方法で薬価を決定しており、つまり、新薬を評価する際に重視するポイントが異なっている。アメリカ、イギリス、およびドイツにおける薬価の決定方式は下記図表の通りとなる。

アメリカ、イギリス、ドイツのような、新薬の付加価値が薬価に反映されやすい、あるいは付加価値を重視した薬価算定制度をもつ欧米諸国と比較すると、開発コストをベースとして算定される日本の薬価は低くなりやすい。

他のモダリティにおいても、製薬企業の収載希望価

格と実際の収載価格の乖離が生じているが、CGT製品では、特に原価が高いためにこの乖離が大きくなり、ドラッグ・ラグやドラッグ・ロスが生じる主な原因の一つとなる。

日本における現状の薬価制度を前提として製薬企業の希望額に近い薬価を獲得するためには、原価方式において不透明性の高い開発コストの内訳を製薬企業側がクリアに開示することが理想であるが、CGT製品の開発には直接・間接問わず様々なサンクコストが複雑に絡み合っており、また秘匿性の高い情報も含まれていることから完全な開示は難しいのが現状である。近年では、そうした製薬企業からの要望を受け、行政においてもCGT製品の特徴を踏まえた制度の見直しに関する議論が進められている。

例えば、一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）からの意見陳述として、CGT領域で特に高額となりやすい費用や、大学やベンチャー企業が特許を持つ技術を使用して開発された製品に必要な契約金を原価計算に計上できるような制度設計が必要である等の提言がされている\*1。



**CGT領域で特に高額となりやすい費用**  
(FIRMの意見陳述より)

- 品質の均一性試験に伴う製造コスト
- 高度技術を持つ人材の人件費（他医薬品と同じ平均労務単価で人件費が計算される）
- 品質のばらつきによる再製造費用
- 患者の状態悪化等による投与キャンセルが生じた場合の費用



### 各国の薬価決定方法



日本&フランス

#### 原価計算方式

CGT製品は類似薬が存在するケースが少ないため、殆どの製品の薬価が原価計算方式にて決定。フランスも類似の方式を採用



アメリカ

#### 製薬会社の希望価格に基づく

画期性・有効性・安全性・マーケットシェアなどを考慮しながら、製薬企業の希望価格で取引され、上市後も市場原理に基づいて薬価が変動\*2



イギリス

#### 製薬会社の希望価格に基づく

Voluntary schemeや、利益率に一定の制限がかかる医薬品価格規制制度（PPRS）で定められた範囲内において、製薬企業の希望価格で取引\*3



ドイツ

#### 初年度は自由価格 → 1年後に評価、公的価格決定

初年度は自由価格で償還、1年後に追加的有用性を評価。有用性があると判断された場合、疾病金庫中央連合会などの保険者団体と製薬企業の交渉を経て、有用性の大きさに応じて公的価格が決定\*4

\*1: 001117445.pdf (mhlw.go.jp) 再生医療等製品の価格算定に対する意見（中央社会保険医療協議会 薬価専門部会 意見陳述資料 R5.7.5）

\*2: 出典：001154031.pdf (mhlw.go.jp) 中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会（第65回）資料

\*3: 出典：No56\_西沢氏.cs5.indd (jri.co.jp) 薬価制度改革の在り方—イギリスとの比較を通じた考察—

\*4: 出典：Microsoft PowerPoint - ③【ノートdel】ドイツスライドv6-3.pptx (mhlw.go.jp) ドイツの制度と事例について

# 日本の薬価・保険制度（診療報酬）上の課題 [物の評価編]

しかし、原価計算方式の運用変更以外にも、補正加算や薬価改定制度の見直しなど、製薬企業の開発イノベーションを適切に評価するための制度の方向性は複数あり、企業から継続的に新たなスキームを提案をしていくことは重要である。このような状況下で製薬企業としてどのような行動をとっていくべきであるか、以下に述べる。

当然ではあるが、新しいスキームに対する要望は製薬企業によって多種多様であり、行政側も全ての

要望を平等に取り入れたスキームを作成することは不可能に近い。自社の要望を反映させるためには、米国で盛んないわゆるロビー活動のような業界団体を通じた活動が重要だが、ただ受動的に参加しているだけでは、業界団体での意見集約が難しく結果的に行政への意見を届けるまでに時間を要してしまう、あるいは総花的で当たり障りのない主張や自社の製品に関する主張が反映されていない形にまとまってしまいう可能性があり、いかに新しいスキーム作成に主体的に働きかけられるかが重要な

点となる。

従って、自社の要望に近い新しいスキームを実現するためには、主張するストーリーを個社で構築した後、そのストーリーが業界団体の主張となるように働きかけることが必要である。そうした活動を実現していくためのポイントとして、個社毎のストーリーの構築と、広くステークホルダーを巻き込んだ発信方法に分けて記載する。



## スキーム実現のためのストーリーの構築と発信

### 社外を説得するストーリーの構築



自社が上市する製品がなぜ評価される必要があるのか、を説明するストーリーが必要であり、その構築のポイントを述べる

- ストーリーは販促を目的とした「製品メッセージ」ではなく、患者やその家族・行政から見ても納得性の高いストーリー性があること
- 企業の上市関連メンバー全員が同じストーリーを語ることができる。役職・部門によって言動が異ならぬように、あらゆるメンバーの意見を取り入れ、検討したうえでのストーリーであること
- ストーリー構築の責任部門、責任者を明確にしたうえで、全ての部門が積極的に協力する文化を醸成すること。また、ストーリー構築にあたって、責任者には各部門の意見の傾聴・調整・ストーリー化など幅広いケイパビリティが必要とされる。必要なケイパビリティを細分化したうえで、不十分である領域を見極め、トレーニングなどを通じて不足分を補強する必要がある

### 構築したストーリーの効率的な発信



構築したストーリーを効率的に行政に届けるためには、個社で発信を続けるより、業界団体や、場合によっては患者団体など他のステークホルダーも巻き込んだ方が効果的である。以下に活動のポイントを述べる

- 構築したストーリーが個社ではなく、業界の意見であることを行政に認識してもらうために、自社のストーリーが、自社が所属する業界団体の主義・主張のメインストリームと一致するよう、十分な人材、時間を割いて業界活動を行うこと
- CGT領域の業界活動をどの部門が、どこまで担うか、チーム間で明確にすること。特に価格や規制・制度は、複数部門の協力が不可欠である可能性が高く、責任部署の指示・依頼に則り全部門横断で取り組む必要がある
- ストーリーの発信には、トップマネジメントも早期から巻き込むこと。CGT領域を中核戦略に位置付けている企業も多いため、トップマネジメントにもストーリーを共有し、発信の機会を増やす

# 日本の薬価・保険制度（診療報酬）上の課題 [技術・サービスの評価編]

次に、薬価・保険制度（診療報酬）上の課題のもう一つの柱である技術・サービスの評価について考察する。

CGT製品は、患者にとっても新たな治療選択肢となるが、治療を受ける過程で様々な負担があるこ

と、また投与を行う医療機関側の視点からの収益性という観点を忘れてはならない。

高額な製品であるほど保管や管理に手間がかかるうえ、注文やアフターサービス、投与の段階で専用の機材を用いる場合には、その使い方を学ぶなど時

間をかけて対応しなければならない。そういった特殊な環境が技術・サービスとして適切に評価されず、投与する度に医療機関側が赤字となるケースが散見される。以下に、上市を控えた製薬企業が把握すべきポイントを述べる。

## 1.

### 医療機関側の機材・設備面での治療実施コスト

- ✓ 一口にCGT製品といっても、自家細胞移植・他家細胞移植を始めとした製品による特長が様々であり、投与までにどのような機材・設備が必要とされるのか、そしてそれらが一般的に既に導入されているものであるかを検証する必要がある
- ✓ 例えば、自家細胞移植で必要とされるアフターサービスという工程について、仮にその産物の凍結が必要であれば、基本的には自家造血幹細胞移植と同様の機材・設備で対応が可能であろう。しかしながら、自家造血幹細胞移植はあらゆる医療機関でも実施している治療ではないため、新たにアフターサービスを実施する場合は機材・設備を購入しなければならない
- ✓ このように、必要とされる治療環境一つひとつについて、製薬企業側が理解を深め、病院として赤字にならない環境とはどのようなものであるか積極的に説明をしていく必要がある

## 2.

### 医療機関側の調整面での治療実施コスト

- ✓ 多くのCGT製品で共通すると推察するが、患者が治療開始当初からその実施施設に通院しているケースは少なく、紹介を通じて来院するケースが多い
- ✓ また、患者の状態から時間的猶予が短いことも多く、また、製品到着から投与までに時間制限がある製品も存在することから、治療実施のスケジュール調整が非常に重要になる。治療薬が高額であることから失敗も許されない状況の中、通常の治療行為で多忙な医師・メディカルスタッフがこれらの対応を迫られることは、重圧となってくるだろう
- ✓ 解決策の一例として、専任のコーディネーターによる対応が理想だが、そのような環境の実現にはどのようなハードルがあるのか、製薬企業側も一体となって見極める必要がある

## 3.

### 医療機関側のファイナンシャル面での治療実施リスク

- ✓ 医療機関の収益性という観点では、資金繰り・経営の観点も忘れてはならない。現在の医療保険制度の仕組みでは、医療機関側が薬剤の代金支払いを行う月と、保険点数として診療報酬が入ってくる月は異なる可能性が高い。このタイムラグが決算・期末の時期にかかる場合、高額薬剤ゆえに会計報告に影響する可能性があり、さらに同月に複数症例の投与があれば資金繰り自体に影響を及ぼす可能性もある
- ✓ 状況によっては、治療を実施する医師が医療機関の経営層に事前に報告し、理解を得なければならないケースもあると思われるため、事前に実施施設には情報提供を行う必要があるだろう

上記のコストおよびリスクの実態を把握したうえで、行政側にストーリーを発信する際には、診療報酬上適切な技術・サービスへの評価に繋がる提案をすることも重要だ。早期より学会やKOLとのディスカッションを重ね、必要に応じて協力を得ながら、行政側への説明を尽くすことが肝要となる。





# おわりに



本編では薬価・保険制度（診療報酬）の観点から、CGT製品の上市にあたって実施していくべき活動を述べたが、これらは時間を要する活動であることが多い。

CGT領域は、基本的にはグローバルチームで上市準備を進める領域と考えられるが、今回ご紹介した活動はグローバルチームによる必須対応事項として認識されにくく、初動が遅れることが多いと推察する。

活動に必要な期間、人員、部署を早期に認識し、時にはグローバルチームに事情を説明したうえで、早期から活動を開始することが望ましいと言える。グローバル製品ではあるものの、日本固有の事情に応じ、部署横断で一丸となった対応が上市後の製品拡大に大きく寄与すると考えられるため、是非上市準備のポイントとして考慮頂きたい。

## 執筆者

上西 洋一

パートナー

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

木戸 太一

ディレクター

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

大澤 奈緒子

シニアマネジャー

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

植木 貴之

マネジャー

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

村上 元気

マネジャー

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

吉岡 百合絵

マネジャー

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

王 希鷗

シニアコンサルタント

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

松山 奈央

コンサルタント

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

横田 将志

コンサルタント

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

大友 菜穂

コンサルタント

ライフサイエンス&ヘルスケア

デロイトトーマツ コンサルティング 合同会社

# Deloitte.

## デロイトトーマツ

デロイトトーマツグループは、日本におけるデロイト アジア パシフィック リミテッドおよびデロイトネットワークのメンバーであるデロイトトーマツ合同会社ならびにそのグループ法人（有限責任監査法人トーマツ、デロイトトーマツリスクアドバイザリー合同会社、デロイトトーマツコンサルティング合同会社、デロイトトーマツファイナンシャルアドバイザリー合同会社、デロイトトーマツ税理士法人、DT弁護士法人およびデロイトトーマツグループ合同会社を含む）の総称です。デロイトトーマツグループは、日本で最大級のプロフェッショナルグループのひとつであり、各法人がそれぞれの適用法令に従い、監査・保証業務、リスクアドバイザリー、コンサルティング、ファイナンシャルアドバイザリー、税務、法務等を提供しています。また、国内約30都市に約2万人の専門家を擁し、多国籍企業や主要な日本企業をクライアントとしています。詳細はデロイトトーマツグループWebサイト、[www.deloitte.com/jp](http://www.deloitte.com/jp)をご覧ください。

Deloitte（デロイト）とは、デロイトトウシュートーマツリミテッド（“DTTL”）、そのグローバルネットワーク組織を構成するメンバーファームおよびそれらの関係法人（総称して“デロイトネットワーク”）のひとつまたは複数を指します。DTTL（または“Deloitte Global”）ならびに各メンバーファームおよび関係法人はそれぞれ法的に独立した別個の組織体であり、第三者に関して相互に義務を課しまたは拘束させることはありません。DTTLおよびDTTLの各メンバーファームならびに関係法人は、自らの作為および不作為についてのみ責任を負い、互いに他のファームまたは関係法人の作為および不作為について責任を負うものではありません。DTTLはクライアントへのサービス提供を行いません。詳細は [www.deloitte.com/jp/about](http://www.deloitte.com/jp/about) をご覧ください。デロイト アジア パシフィック リミテッドはDTTLのメンバーファームであり、保証有限責任会社です。デロイト アジア パシフィック リミテッドのメンバーおよびそれらの関係法人は、それぞれ法的に独立した別個の組織体であり、アジアパシフィックにおける100を超える都市（オーストラランド、バンコク、北京、ベンガルール、ハノイ、香港、ジャカルタ、クアラルンプール、マニラ、メルボルン、ムンバイ、ニューデリー、大阪、ソウル、上海、シンガポール、シドニー、台北、東京を含む）にてサービスを提供しています。

Deloitte（デロイト）は、監査・保証業務、コンサルティング、ファイナンシャルアドバイザリー、リスクアドバイザリー、税務・法務などに関連する最先端のサービスを、Fortune Global 500®の約9割の企業や多数のプライベート（非公開）企業を含むクライアントに提供しています。デロイトは、資本市場に対する社会的な信頼を高め、クライアントの変革と繁栄を促し、より豊かな経済、公正な社会、持続可能な世界の実現に向けて自ら率先して取り組むことを通じて、計測可能で継続性のある成果をもたらすプロフェッショナルの集団です。デロイトは、創設以来175年余りの歴史を有し、150を超える国・地域にわたって活動を展開しています。“Making an impact that matters”をパーパス（存在理由）として標榜するデロイトの45万人超の人材の活動の詳細については、[www.deloitte.com](http://www.deloitte.com) をご覧ください。

本資料は皆様への情報提供として一般的な情報を掲載するのみであり、デロイトトウシュートーマツリミテッド（“DTTL”）、そのグローバルネットワーク組織を構成するメンバーファームおよびそれらの関係法人が本資料をもって専門的な助言やサービスを提供するものではありません。皆様の財務または事業に影響を与えるような意思決定または行動をされる前に、適切な専門家にご相談ください。本資料における情報の正確性や完全性に関して、いかなる表明、保証または確約（明示・黙示を問いません）をするものではありません。またDTTL、そのメンバーファーム、関係法人、社員・職員または代理人のいずれも、本資料に依拠した人に関して直接または間接に発生したいかなる損失および損害に対して責任を負いません。DTTLならびに各メンバーファームおよび関係法人はそれぞれ法的に独立した別個の組織体です。

Member of  
**Deloitte Touche Tohmatsu Limited**

© 2024. For information, contact Deloitte Tohmatsu Group.



IS 669126 / ISO 27001



BCMS 764479 / ISO 22301

IS/BCMSそれぞれの認証範囲はこちらをご覧ください  
<http://www.bsigroup.com/clientDirectory>