

再生医療等製品の保険償還価格の算定について

類 別	ヒト細胞加工製品（ヒト体性幹細胞加工製品）		
成 分 名	ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞		
収 載 希 望 者	ニプロ（株）		
販 売 名 （規格単位）	ステミラック注（1回分）		
効 能、効 果 又は性能	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。		
主な用法及び用量 又は使用方法	<p>骨髄液の採取は、患者の全身状態等を考慮した上で、脊髄損傷受傷後31日以内を目安に実施する。また、製品が製造され次第、可能な限り速やかに投与する。</p> <p>1. 本品の原料採取時に行う事項</p> <p>(1) 患者から末梢血を採取する。採取した末梢血は採血キットの構成体である容器（ニプロセルトリー 血清用）に入れ密封する。末梢血の入った容器は製造販売業者の指定する施設へ運搬する。</p> <p>(2) 患者から骨髄液を採取する。採取した骨髄液は、骨髄採取キットの構成体である骨髄希釈液DMEMとともに容器（ニプロセルトリー 骨髄用）に入れ、混合して密封する。骨髄液の入った容器は製造販売業者の指定する施設へ運搬する。</p> <p>2. 本品を患者に適用する際に行う事項</p> <p>自己骨髄間葉系幹細胞として1回$0.5 \times 10^8 \sim 2.0 \times 10^8$個（最大投与量は体重1kgあたり$3.34 \times 10^6$個）を、生理食塩液で3倍以上に希釈しながら、本品の流量$0.7 \sim 1.0$ mL/分を目安に点滴静注する。</p>		
算 定	算定方式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	9,991,755円
		営業利益	1,667,236円 (流通経費を除く価格の14.3%)
		流通経費	931,712円 (消費税を除く価格の7.4%) 出典：「医薬品産業実態調査報告書」（厚生労働省医政局経済課）
		消費税	1,007,256円
	補正加算	先駆け審査指定制度加算（A=10%）、加算係数=1.0 (加算前) (加算後) 1回分 13,597,959円 → 14,957,755円	
	外国平均価格調整	なし	
算定薬価	1回分 14,957,755円		
外 国 価 格		新薬収載希望者による市場規模予測	
なし		<p>予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額</p> <p>(ピーク時)</p> <p>9年度 249人 37億円</p>	
最初に承認された国（年月）： 日本（2018年12月）			
製造販売承認日	平成30年12月28日	薬価基準収載予定日	平成31年 2月26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	平成31年 1月24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	ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞	本剤と同様の効能・効果、薬理作用、組成及び化学構造等を有する既収載品はないことから、新薬算定最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。	
	ロ. 薬理作用	神経保護作用	
	ハ. 組成及び化学構造	患者自身の骨髄液から接着培養により増殖させて得られるヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 静脈内投与	
補正加算	画期性加算 (70～120%)	該当しない	
	有用性加算（Ⅰ） (35～60%)	該当しない	
	有用性加算（Ⅱ） (5～30%)	該当しない	
	市場性加算（Ⅰ） (10～20%)	該当しない	
	市場性加算（Ⅱ） (5%)	該当しない	
	小児加算 (5～20%)	該当しない	
	先駆け審査指定制度加算 (10～20%)	該当する（A=10%） 本品は、新規の作用機序を有し、世界に先駆けて日本で承認されたものである一方で、本品の臨床試験は、単施設で探索的な位置付けの試験（脊髄損傷患者を対象とした第Ⅱ相医師主導治験）として計画され、対照群が設定されておらず、対象症例数が少数であることから限定的な評価とした。	
新薬創出・適応外薬解消等促進加算	該当する（主な理由：新規作用機序）		
当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点	当初算定案の製品総原価は、収載希望者が提示した製品総原価を相当下回っている。本製品は医薬品医療機器法及び関連省令等の規定を満たす構造設備で製造することや、製品の承認書の規定に基づき日本薬局方に規定された方法で試験を行う必要がある。これらの規定に基づいて整備・試験を行うものについては製造経費等として薬価に含めるべきである。		
上記不服意見に対する見解	第二回算定組織	平成31年 2月 1日	
	当初算定案においても本製品の製造時に実施する試験の費用は計上されているが、一部の試験について、標準品を日本薬局方で規定されたものの金額に変更することが妥当と判断した。 その他の製造経費等については、当初算定案において適切に計上されていると判断した。 ⇒ 当初算定案を変更する。 (製品総原価 9,991,755円) 算定薬価 1回分 14,957,755円		

製品概要

販売名	ステミラック注															
使用目的	<p>本品は、患者本人から採取した骨髄液中の間葉系幹細胞を体外で培養して増殖させた後、凍結保存バッグに充填して凍結保存したものを主構成体とする再生医療等製品である。</p> <p>脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善を目的とし、医薬品と同様に薬理的な作用による治療効果を期待して、点滴で静脈内に投与される。</p>															
主な使用方法																
主な有用性	<p>従来の標準治療では、神経機能の改善度は低く予後は不良である。外傷性脊髄損傷で、ASIA 機能障害尺度が A、B 又は C の患者を対象とした国内治験において、全 13 例中 12 例で ASIA 機能障害尺度 1 段階以上の改善が認められ、本品の一定の有効性が期待された。</p> <p>脊髄損傷受傷後 220 日目における投与直前から ASIA 機能障害尺度が 1 段階以上改善した症例の割合</p> <table border="1" data-bbox="359 1447 1406 1762"> <thead> <tr> <th>投与直前の ASIA 機能障害尺度</th> <th>例数 (1 段階以上改善した症例数/ 解析対象症例数)</th> <th>1 段階以上改善した症例の割合 (%)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>A</td> <td>5/6</td> <td>83.3</td> </tr> <tr> <td>B</td> <td>2/2</td> <td>100</td> </tr> <tr> <td>C</td> <td>5/5</td> <td>100</td> </tr> <tr> <td>合計</td> <td>12/13</td> <td>92.3</td> </tr> </tbody> </table>	投与直前の ASIA 機能障害尺度	例数 (1 段階以上改善した症例数/ 解析対象症例数)	1 段階以上改善した症例の割合 (%)	A	5/6	83.3	B	2/2	100	C	5/5	100	合計	12/13	92.3
投与直前の ASIA 機能障害尺度	例数 (1 段階以上改善した症例数/ 解析対象症例数)	1 段階以上改善した症例の割合 (%)														
A	5/6	83.3														
B	2/2	100														
C	5/5	100														
合計	12/13	92.3														
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> 緊急時に十分対応できる医療施設において、脊髄損傷の診断・治療に対して十分な知識・経験を持つ医師のもとで、本品の使用が適切と判断される患者に対して、バイタルサインの確認、臨床検査によるモニタリングや管理等の適切な対応がなされる体制下で本品を使用すること。 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと。 															