

「科学技術イノベーション政策のための科学 研究開発プログラム」 研究開発プロジェクト事後評価報告書

令和2年3月

プロジェクト：コストの観点からみた再生医療普及のための学際的リサーチ

研究代表者：八代 嘉美（神奈川県立保健福祉大学 教授）

実施期間：平成28年10月～令和2年3月

■ 1. 研究開発プロジェクトの目標の達成状況

目標は、ある程度達成されたと評価する。

本プロジェクトは、先端科学の一領域である再生・細胞医療に関する製品・技術を対象として、医療技術としてはいまだ萌芽的と考えられる現在の段階から実際に想定されるコストの面について綿密な検討を行うことにより、広く国民に対して安定的かつ持続的な形で再生医療を提供していくための制度設計や産業振興のあり方を考えるうえでの基盤となる知見の提供を目指したものである。再生医療等製品の普及展開にあたっては、製造および流通に要するコストの高さが大きな課題となることが産学官の共通する問題認識として指摘されており、再生医療を巡るコスト構造が実証的に明らかにされることは重大な政策的意義を有するものであった。そのため、本プロジェクトの目標設定そのものは、客観的根拠に基づく政策の形成を目指す本プログラムの目的に合致しておりある程度妥当であった。

一方で、こうした目標設定に対して、研究開発がスタートした段階においては必ずしも具体的な手法や想定される成果が明確に構想されていなかったことに加え、プロジェクトの中核となるコストに関する情報収集の実現可能性についての見通しの甘さなど、目標達成に向けたアプローチの具体化という点で課題がみられた。また、当初の計画として提示された研究開発実施項目はコスト構造の分析のみならず、医療保険財政の現状を踏まえた持続可能な研究開発振興や普及に向けた情報基盤と評価モデルの構築まで含まれており、結果的にみれば実際の研究実施体制に対して過大な項目設定であったことは否めず、ある程度研究開発の範囲を絞るべきであった。

こうした一部の項目に未達があったことや必ずしも十分な取り組みがなされたとは言いがたい項目がみられるものの、これまで多くのステークホルダーから高い関心が向けられながらも明示的には示されてこなかった再生・細胞医療分野におけるコストの情報について、本プロジェクトは既に保険適用の対象となったいくつかの製品・技術を対象に事例ベースでの情報収集を重ね、最終的には一般化したコストモデルを提示するに至った。こうした高い新規性を持った知見が創出されるとともに、再生医療をとりまくステークホルダーの関係性を構造的に整理するに至った点については、今後の再生・細胞医療の普及という大きな目的に資する非常に有益な知見であると評価される。

研究開発のスタートした後、コスト情報の収集を予定していた製品・技術が厚生労働省中央社会保険医療協議会による費用対効果評価の試行的導入における対象品目等に指定されたことから、企業等から情報提供を受けることが困難となり、結果としてコスト情報の収集にかなりの時間を要することになるなど、現実の政策展開の影響を受けることとなった。この間、代案の模索がなされたものの、コスト情報の収集は本プロジェクトの中核的な部分に位置付けられることも

あり、大幅な軌道修正を行うことは困難であった。研究代表者による地道なネットワークの構築や主要なステークホルダーとの意見交換等が重ねられたことにより、最終的には概ね予定どおりにコスト情報が収集されたことから、研究開発の展開を踏まえた目標の修正は、一部適切になされたと評価する。

■ 2. 政策のための科学プログラムの目的達成への貢献状況

○客観的根拠に基づく科学技術イノベーション政策形成への寄与という観点で、成果は科学技術イノベーション政策形成の実践に将来的に資するとある程度期待し得ると評価する。

再生医療に関するサプライチェーンを構造化し、細胞培養から製造過程、流通プロセスに至るまでの各段階において、事例をもとに実際にどれくらいの費用が発生しているのかを特定するに至った。これにより、コストが高止まりしている要因として製造過程における多段階に渡る品質管理の工程が指摘されるなど、細胞培養をはじめとする技術的な特性のみならず、製造過程における規制への対応が実際にはコストを押し上げることに繋がっていることが明らかとされた。また保険適用時の価格算定に用いられる原価の概念についても、ファクトベースで導出された原価と企業等が申請をする額面とに一定の差が生じていることも明らかになった点である。

コスト情報の収集とサプライチェーンベースの構造化から導かれたこれらの知見は、保険制度や薬事規制、技術標準といった再生・細胞医療をめぐる政策的な議論に対して新たなエビデンスを提供するものであり、具体的な政策形成過程への将来的な実装が期待される知見といえる。アカデミアや企業、政策担当者が今後再生医療等製品の普及促進に向けた方策を検討するうえでの基礎的な資料として参照されるべく、論文等の形でとりまとめがなされることはもちろん、より一層の積極的な情報発信を期待したい。

○本プロジェクトは、「科学技術イノベーション政策のための科学」に資する新たな指標や手法等の創出および制度等に貢献し得るが限定的であると評価する。

創出された知見は、医療政策やライフサイエンス分野の研究開発といった特定の政策領域に固有の事情に相当程度依拠するものであり、科学技術イノベーション政策として他の分野にも応用可能な汎用的な知見が導出されたとは言い難い。コストや規制の問題がイノベーションを阻害するという問題設定そのものは、必ずしもライフサイエンス分野に固有の特性とは言い切れず、他の先端科学技術諸分野にも一定程度応用可能な知見であると考えられる。応用可能な知見とそうでない固有の特性に基づく知見とを峻別したうえで、他分野への成果の展開を期待したい。

また、本プロジェクトがコストの分析と構造化にあたって用いた手法そのものは、新規性や独自性のみられるものであったとはいえない。サプライチェーンを巡るコストの分析手法については、先行する様々な研究が存在していることから、こうした知見が的確に参照されるべきであった。

本プロジェクトにおいては、再生・細胞医療分野の多くの研究者や企業等、政策担当者からの情報提供や知見の提供といった有形・無形の協力を得つつ研究開発が進められた。そのため、研究代表者がこれまでに構築してきたネットワークをさらに強固なものすることに貢献したことが窺われる一方で、研究代表者が一人でプロジェクト運営の大半を担っている実態を見る限り、新たな研究人材の発掘や人材育成、ネットワーク拡大には貢献したが限定的であると評価する。

■ 3. 研究開発プロジェクトの目標の達成に向けた取り組みの状況

○研究開発活動は概ね適切になされたと評価する。

収集予定とされていた製品・技術のコスト情報が、医療技術評価の試行的導入といった具体的な政策展開を受けて困難になるなど、政策動向の影響によって計画が大きく遅延することになるなど、プロジェクト運営上深刻な影響がみられた。結果として、当初構想されていた計画に比べて、実際の研究開発スケジュールは大幅な遅れをきたすことになったほか、予定されていた研究開発実施項目のなかには十分といえるだけの取り組みが実施されなかった部分が残ることとなった。その一方で、必ずしも順調な研究開発が推進されたとは言い難いものの、研究代表者の精力的な取り組みの結果として、最終的には研究開発期間内にコスト情報の収集を終え、コスト構造の分析に至っていることから、プロジェクトを取り巻く情勢の変化や難易度を考慮すれば、計画の見直しを含めて概ね適切に研究開発が推進されたと評価する。

○研究開発の実施体制および管理運営は、一部適切に成されたと評価する。

本プロジェクトにおいては、研究開発の実施期間中に複数回に渡る実施体制の変更がみられた。研究代表者の異動に加え、コスト分析やコストモデルの構築にあたることが予定されていた研究開発実施者のプロジェクトからの離脱があり、一部項目の研究開発が中断することになるなど、前述の情勢の変化と合わせて、これらの体制変更は計画的なプロジェクト運営を困難なものとする大きな要因となった。

プログラム・マネジメントチームとも協議をしつつ、新たに複数の研究者からの協力を得ることによる体制の整備が試みられたものの、結果的には実質的に研究を分担するメンバーの参画は得られず、プロジェクトが終了する時点においてもなお実施体制を適切に構成できたとはいえない。環境変化に合わせた実施体制の見直しが的確に行われなかったことから、設定された研究開発実施項目の大半を研究代表者が独力で実施することを余儀なくされることとなり、結果として未実施もしくは必ずしも十分な取り組みがなされなかった項目を数多く残すこととなったと判断される。

■総合評価

一定の成果が得られた（一定程度期待し得る）と評価する。

本プロジェクトにおいて当初設定されていた目標は「医療保険財政の現状を踏まえた持続可能な研究開発振興と再生医療の普及に向けた情報基盤と評価モデルを構築し、再生・細胞治療の振興における『客観的根拠に基づく政策形成』に資すること」であり、こうした目標設定に比べれば、実際に創出された成果はその一部に留まっていると評価される。

しかしながら、医療技術評価等の政策展開や実施体制の変更による影響を受けつつも、本プロジェクトによって再生医療等製品に関するコスト情報が精力的に収集され、サプライチェーンにおけるコスト構造を事例ベースで明らかにした点については、再生医療等製品の文字通りの原価を明らかにするとともに、審査・承認過程で求められる品質管理水準がコストを押し上げている実態を浮き彫りにするなど、再生医療等製品のコスト問題に関する本質的な論点に踏み込んだ具体的な成果が創出されたといえる。

あわせてとりまとめられた再生・細胞医療分野をとりまくステークホルダーのネットワーク図を含め、今後の政策形成過程において、関係各省やエージェンシー、研究者、企業といった再生医療をとりまくあらゆるステークホルダーによって参照されうる叩き台としては十分といえる知見がとりまとめられたものと判断される。創出された成果と導出にあたって用いられた手法との対応関係が必ずしも明確ではないことから、成果の全体像をあらためて再整理することが求められる。

今後は、多くのステークホルダーによって本プロジェクトの成果が活用され、あるいはその妥当性と信頼性が問い直されることを通じて、実際の政策形成プロセスの改善に向けた発展的な取り組みが進められることを期待したい。

なお、本プロジェクトは研究開発の当初からプロジェクト・マネジメントの観点で多くの課題を有するものであった。今後の取り組みにあたっては、実現可能な目標設定と効果的に研究開発を推進することが可能な実施体制を構築するよう十分に留意することを求めたい。