

条件及び期限付き承認制度における
再生医療等製品の保険適用に関する要望

日筋協 7 第 8 号
令和 7 年 11 月 14 日

厚生労働大臣 上野 賢一郎 様

一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会

代表理事 竹田 保



1. 要望の趣旨

日本筋ジストロフィー協会は、全国の筋ジストロフィーおよび神経・筋疾患の患者とその家族が、地域を問わず適切な医療と支援を受けられる社会の実現を目指して活動しております。

近年、遺伝子治療をはじめとする再生医療等製品が実用化され、これまで治療法が存在しなかった疾患に新たな希望が生まれています。

その一方で、条件及び期限付承認制度のもとで承認された製品の保険適用の在り方について、中医協において見直しが検討されています。

本制度は、重篤な疾患に対し、安全性を確保しつつ、早期の治療機会を保障するための重要な仕組みであり、その趣旨が損なわれることのない運用を強く求めます。

2. 現状の課題

2025 年 10 月 15 日の中医協総会では、条件及び期限付承認再生医療等製品の算定方法見直しが議題となり、一部では制度の厳格化や保険適用範囲の縮小を求める意見も示されました。

しかしながら、筋ジストロフィーをはじめとする進行性難病では、治療の「タイミング」が生命を左右します。治療を待つ時間もまた「命の時間」であり、保険適用の遅れがそのまま患者の生存機会を奪うことになりかねません。

また、近年一部の再生医療等製品が承認取消しとなった事例を契機に制度全体の見直しが議論されていますが、エレビジス（SRP-9001）のような AAV ベクターを用いた遺伝子治療薬は、これらの製品群とは本質的に異なる性質を有しています。その科学的成熟度、安全性評価体制、国際的なデータ蓄積を踏まえれば、過去の取消事例と同列に論じることが適切ではありません。

上記は 10 月 15 日総会・合同部会の配布資料および報道に基づく。

3. 要望事項

1) 条件及び期限付承認製品の保険適用を原則として担保すること

承認形式の違いにかかわらず、治療機会の公平性を確保するため、保険適用を前提とした運用を求めます。

2) 安全性確保とアクセス保障の両立

市販後調査や適正使用ガイド整備などの安全対策を推進しつつ、治療を必要とする患者が継続的に適切な医療を受けられるよう、制度運用の柔軟化をご検討賜りますようお願いいたします。

特に、エレビジスのように適正使用指針と長期フォローアップ体制が構築される治療薬においては、「安全性の確保と早期アクセスの両立」という制度本来の目的を踏まえ、保険適用を原則担保しつつ柔軟な制度運用を図ることが妥当です。

3) 経済的格差の是正

高額な再生医療等製品へのアクセスにおいて、所得や地域による格差を是正するため、公費助成・高額療養費制度等の拡充を検討してください。

4) 患者・市民参画（PPI）の制度化

中医協および部会の審議過程に、患者・家族が参加し意見を反映できる仕組みを導入してください。

5) 制度運用の透明化

承認・再評価・価格算定の判断過程を明示し、患者・家族にも理解できる形で情報を公開してください。

4. 結びに

本要望は、当事者団体としての立場から、行政・医療・企業・研究者との協働を通じて得た知見を踏まえ、独自にまとめたものです。

条件及び期限付承認制度は、重篤な疾患と闘う患者にとって「命をつなぐ希望」です。

制度の信頼性を高めつつ、すべての患者が公平に治療へアクセスできる社会を実現するため、厚生労働省におかれましては、公正かつ柔軟な制度運用を賜りますようお願い申し上げます。

なお、本要望書は中央社会保険医療協議会総会ならびに関係部会にも副本として送付いたします。

以上