

具体例の検討に係る 主なご意見・ご議論について

1. データ提出のあり方等について
2. 分析の方法について
3. 評価の一連の流れのあり方について
 - (1)再分析のあり方
 - (2)アプレイザルのあり方
4. 評価結果の活用方法について

具体例を用いた検討について

① 具体例の選定基準と対象品目

医薬品5品目、医療機器3品目について、企業にデータとデータを用いた分析の提出を依頼

【医薬品の選定基準】

- 1) 平成17年度以降に有用性加算のついた類似薬効比較方式又は原価計算方式で算定したもの
- 2) 諸外国において複数の評価機関により費用対効果評価を提出されており、詳細な分析結果が公開されているもの（ただし、複数品目を同時に評価しているものは除外する）
- 3) 1)、2)を満たすもののうち、予測ピーク時売上高が原則各年度で一番大きいもの

【医療機器の選定基準】

- 1) 平成17年度以降に有用性加算若しくは改良加算のついた類似機能区分比較方式又は原価計算方式で算定したもの
- 2) 諸外国において複数の評価機関により費用対効果評価を提出されており、詳細な分析結果が公開されているもの
- 3) 1)、2)を満たすもののうち、同一機能区分の複数の品目が該当する場合は、そのうち保険適用時の償還価格が最も高いもの
- 4) 1)、2)、3)を満たすもののうち、同一企業が複数の品目で該当する場合は、他の企業の品目で該当するものがある機能区分については、他の企業の品目で保険適用時の償還価格が最も高いもの

② 具体例のデータ・分析の提出の実施について

実施要項に基づいて、

- ・対象となる医薬品・医療機器の性質
- ・分析の設定（分析対象や比較対照、効果指標等）
- ・有効性データ
- ・分析方法の詳細
- ・分析結果と解釈

等の提出を依頼

③ 具体例を用いた分析等の体制

特別研究班を構成

厚生労働科学研究費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
「中央社会保険医療協議会における医薬品・医療機器の費用対効果評価再分析に関する研究」
（研究代表者：福田敬（国立保健医療科学院統括研究官））

具体例に関する検討の経緯と今後のスケジュール

平成26年1月

中医協において、具体例を用いた検討を進めることについて了承

平成26年5月

中医協において、具体例の選定基準と対象品目等について了承

企業が提出したデータ・分析を、研究班が再分析

平成27年1月～

費用対効果評価専門部会で具体例の分析結果等について議論開始（品目を分けて行うなど複数回にわたって実施）

平成27年春（目途）

具体例の検討によって抽出できた課題等を整理した上で、総会へ報告

1. データ提出のあり方等について

(1) データ・分析の提出に基づく具体例を用いた検討について

①具体的な医薬品、医療機器等を例とした検討を行う際には、企業が収集したデータおよびそのデータに基づく分析（以下、「データ・分析」という。）を提出し、提出されたデータ・分析を元に検討を行うことにより、着実に検討を進めることができるのではないかという指摘等があったことを踏まえ、医薬品、医療機器について、企業に費用対効果が評価可能となるようなデータ・分析の提出を要請することとし、それに基づいて、具体的な検討を行ってはどうか。

⑥データ・分析の提出を求める際は、企業側の準備期間に配慮し、数ヶ月程度の猶予を置くこととしてはどうか。

(平成26年5月28日中医協総会資料【総-3】より抜粋・下線)

主なご意見・ご議論

データ提出のあり方について

- 企業による分析結果の提出に当たって、今回の検討においては社内手続きや秘密保持契約等の問題により提出されなかったものもあったが、企業へより協力を求めていけるようにするべき。

分析期間について

- 企業が分析するには1年程度かかるとのことだが、薬事承認や保険適用が遅れるのは問題。
- 治験実施中にモデルの構築を始めるなどの対応をとることで、保険適用のタイミングに間に合うようデータを提出できるのではないか。
- データを作る側として、既にフェーズⅢや承認申請の段階に入っている場合は、新たにデータを取るのが難しいことを勘案してほしい。

人材の確保について

- 企業として人材の確保を進めているが、そもそも日本では医療経済分野の人材の層が薄く、教育を含め今後の課題である。

2. 分析の方法について

1. 1) 効果指標

質調整生存年（QALY）、生存年（LY）、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率、死亡率等を効果指標として、複数の指標を用いることも可能とする。QOL値を用いる場合は、国内データに基づいて開発されたQOL尺度を用いたものを優先的に使用する。

1. 2) 効果データの取り扱い

幅広に関連する効果データの検索を行う等、網羅性を担保することとする。また、対象集団や診療実態の違い（例えば海外データの場合、医薬品・医療機器の使用実態のわが国との違い等）等に留意しつつ、原則としてエビデンスレベルが高いデータを優先する。なお、エビデンスは、当該医薬品・医療機器が保険適用された時点あるいは適応拡大された時点のものに限らず、現時点で最新のものを用いてよい。

3. 1) 比較対照

幅広く臨床現場等で使用されており、当該医薬品・医療機器が導入されたときに、最も置き換わりうると想定されるもの（無治療を含む）を原則とするが、当該医薬品・医療機器が保険適用された時点あるいは適応拡大された時点に開発されていなかった医薬品・医療機器は比較対照に含めない。また、複数の比較対照を用いて分析を行うことも可能とする。

3. 3) 分析手法

費用対効果評価の結果は、原則として増分費用効果比（ICER）を用いて表すこととする。ただし、比較対照と臨床的に同等であることが想定される場合は、費用のみの比較を行う。ICERを算出する際に使用した数値とそのデータソースはすべて記述するが、知的財産上の観点から公にすることが困難なものについては提出者がその旨を記載しておくこと。

（平成26年5月28日中医協総会資料【総－3】より抜粋・下線）

主なご意見・ご議論①

分析ルールについて

- 【再掲】企業による分析結果の提出に当たって、今回の検討においては社内手続きや秘密保持契約等の問題により提出されなかったものもあったが、企業へより協力を求めていけるようにすべき。
- 分析に当たってはシステマティックレビューを必須とするなど、企業が分析する際のルールが必要ではないか。

QALYについて

- 医薬品ではQALYで評価できることが多いが、医療機器でも、十分な時間とデータさえあれば、QALYを用いて分析することは可能。
- 医療機器は比較対照試験が少なく、QALYを用いた分析は困難な場合があるのではないか。
- オーストラリアやカナダなどでは、QALYを用いた医療機器の分析も行われている。また、これまでの研究でも、QALYを用いた分析は有用であるとされている。
- QALYや生存年以外のものを効果指標とした場合もあったが、複数の効果指標についての多面的な評価が必要な場合もあるのではないか。

主なご意見・ご議論②

QOL値のデータについて

- 分析に当たって日本人のQOLデータが不足していたが、外国人と日本人の差が0.1以下に過ぎない場合もあるので、外国人のQOLデータを用いて分析することは可能ではないか。
- 海外では、自国のデータがない場合に、外国のデータを使うことがある。
- 外国のデータを用いることを禁じている国はないのではないか。
- 日本版EQ-5Dを積極的に認めつつ、可能な場合には外国のQOLデータも使えることにすべきではないか。

基盤となるデータの整備について

- QOL値については、個別にデータを集めるのが難しい場合もあると思われるので、例えば、疾患領域ごとに類型化して、あらかじめデータを整備しておいてはどうか。
- 国内でも様々な調査が行われているが、例えば既存の厚生労働科学研究において、QOLデータを含む文献の調査を行っている。また、再分析班とは別の研究班において、国内で収集されたQOLデータに関する文献データベースを作成しているので、利用できる可能性がある。
- (費用対効果評価に活用できるか否かに関わらず、)企業の販売後の調査としては、市販後調査がある。また、現場の医師が実臨床データを集めて発表することもある。

主なご意見・ご議論③

比較対照について

- 比較対照については、新しい製品が入ってきたときに最も置きかわり得るものを比較対照にすることを原則として議論してきたが、医療機器の分析に当たっては、類似の医療機器を比較対照とするだけでなく、分析の対象とする疾患によっては、薬物療法を比較対照とする場合もありえるのではないか。
- 保険収載される際の比較対照と、費用対効果の分析の比較対照は異なることがありえるのではないか。

感度分析について

- 分析結果の頑健性を確認するため、感度分析を実施すべきではないか。

3. (1)再分析のあり方

(3) 具体的な検討のためのデータ提出について

- 評価対象技術の範囲について、医薬品、医療機器が中心となる場合は、企業が収集したデータを提出し、提出されたデータを元に検討を行うことにより、着実に検討を進めることができるのではないか。その中で、提出されたデータが、中立なものであるかどうか、検証することが必要となるのではないか。
- 諸外国の実施状況を勘案すると、費用対効果のデータの分析・提出について、企業が行うことが多くあることから、企業が提出したデータについて、検証する仕組みが重要ではないか。

(平成25年12月25日費用対効果評価専門部会資料【費-1】より抜粋・下線)

主なご意見・ご議論

再分析のあり方について

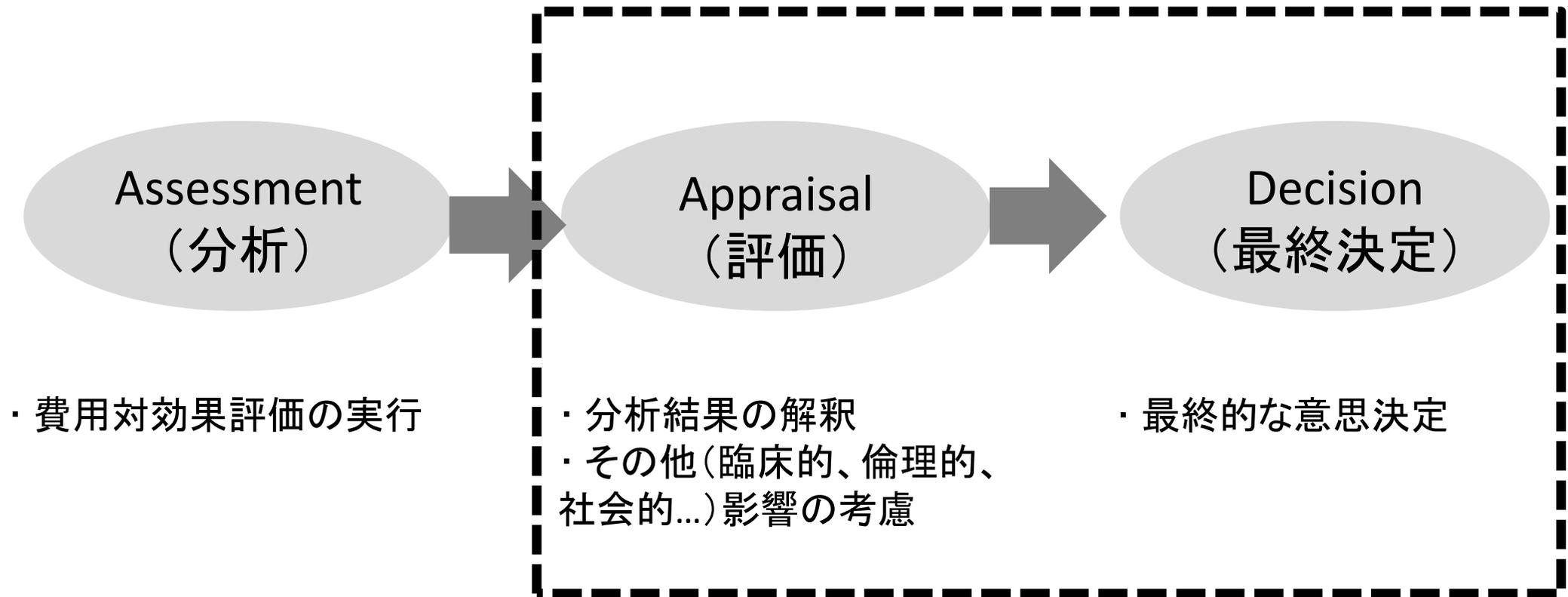
- 【再掲】分析に当たってはシステマティックレビューを必須とするなど、企業が分析する際のルールが必要ではないか。
- (企業による分析と研究班による再分析の結果に違いがあったことを踏まえると、)参考人等による再分析は必須だろう。その際、現実に即した十分な期間を見込むべき。
- 企業が提出した分析に基づいた再分析に加え、研究班が独自に改めて分析を実施する必要があるとすると、今回の具体例の検討のように参考人や研究班、事務局だけに任せるのは無理があるため、専門的に対応する体制が必要だろう。
- 当該分野の専門家と連携することで、よりよい再分析ができるのではないか。
- 企業としても、再分析は必須のプロセスであると考えている。英国では7つのグループに外部委託しており、日本でも人材の裾野を広げることが必要。(注:現在は9つのグループに委託)

3. (2) アプライザルのあり方

Appraisalについて

中医協 費-2 (改)
25.2.27

一般的な費用対効果評価を用いた意思決定のプロセス



Appraisalにおいては、様々な要素を考慮して評価を行う。

主なご意見・ご議論

アプレイザルのあり方について

- 評価(アプレイザル)を進める中で、生産性損失を含んだ分析結果が必要とされた場合には、改めて再分析を実施することも考えるべきではないか。
- 選択する効果指標や臨床試験によって分析結果が大きく異なる場合は、アプレイザルにおいて、分析手法の違いを含めて解釈することになるのではないか。
- 今回の分析において、他の薬剤などとの比較をどのように考えるかという論点があるが、これはまさに「アセスメント」であり、さらに保険予算全体から見てその比較が妥当かというのはアプレイザルの役割であり、視点は異なるもの。その際、アプレイザルを進めるに足るアセスメントである必要があると思う。

4. 評価結果の活用方法について

(2) 具体的な評価の活用手法

①-1費用対効果評価の活用方法について

諸外国における費用対効果評価の取り組みを踏まえ、結果活用方法としては、下記に大別できるとの確認がなされた。

(ア) 保険償還の可否の判断を行う。

(イ) 保険償還価格への反映を行う。

また、諸外国において保険償還の可否の判断に使用する際には、患者アクセスを確保するための措置として、「予め定めた使用回数や使用期間までは償還し、上回った部分は、公的医療保険以外〔事実上の値引き等〕による提供とする」等の対応が行われることがあることが確認された。

①-2結果活用の時期について

結果活用の時期については、下記の場合に分けて検討がなされた。

(ア) 保険収載の前後

(イ) 保険収載後、1～2年を経過した後

(ウ) 保険収載後、数年経過後

保険収載の前後に結果活用を行う際は、早期に費用対効果評価の結果が反映される一方で、評価に時間を要する場合、保険収載の遅延につながる可能性があることが指摘された。

(平成25年11月6日費用対効果評価専門部会資料【費－1(議論の中間的な整理)】より抜粋)

主なご意見・ご議論①

評価結果を活用する時期について

- 本邦での制度化に当たって、評価結果を活用できるタイミングには保険収載時と市場導入後一定期間後とがあるが、収載時点で利用可能なデータを使うことで、収載時にも評価可能ではないか。その場合、主に治験のデータが用いられると思われる。
- データがないと言っただけでは費用対効果の分析を実施できない。例えば、ある時点で存在するデータを用いて分析を行い、その後、新たに収集されたデータも含めて再評価していくという方法もあり得るのではないか。
- 治療法は時代と共に変遷するものであることを踏まえると、専門家の意見を聞きながら、市販後の再評価を取り入れていくのがよいのではないか。

結果の解釈について

- 英国NICEでは2万～3万ポンド/QALYを推奨の目安としているが、抗がん剤など終末期（End of Life）に用いる医薬品については、4万～5万ポンド/QALYまで推奨している。なお、費用対効果評価の観点から推奨されないおそれがある場合には、患者の新薬へのアクセスを確保するため、薬剤費の一部を企業が負担することとして、条件付き推奨とすることもある。
- WHOでは一人当たりGDPを目安とした解釈の仕方を提示している。

主なご意見・ご議論②

適応症や用法により結果が異なる場合の考え方について

- 一部の適応症等では費用対効果がよいが、それ以外では費用対効果が悪い場合、他国では、費用対効果評価の結果を踏まえて適応症を決定したり、学会のガイドラインで非推奨としたりしている。

現在の制度との関係について

- 新規収載品の価格を決定する際には、製品原価、マーケットスケール、研究開発費等が必要であり、これらがないと製品の価格がわからず、分析が行えないのではないかと考えている。
- 現在の薬価制度・材料制度との関係をみながら制度に組み込む必要があるのではないか。

試行的導入のあり方について

- 費用対効果の議論は、そもそも日本の保険財政が厳しい中で、何が出来るかということで始まったもの。日本のデータが十分に整うのを待っていると、制度の導入まで10年、20年かかってしまうため、諸外国の例に倣い、まずは試行的に制度を導入して、少しずつ修正していくのがよいのではないか。