

医薬品の費用対効果評価案について

	品目名	効能・効果	収載時価格	うち有用性系 加算率	市場規模 (ピーク時予測)	費用対効果評価区分	総会での 指定日	頁
①	エプキンリ皮下注	※ 1	137, 724 円 (4mg0. 8mL 1 瓶) 1, 595, 363 円 (48mg0. 8mL 1 瓶)	10%	307 億円	H 1 (市場規模が 100 億円以上)	2023/11/15	2

※ 1 効能・効果：再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫（びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B 細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型 B 細胞リンパ腫）、
再発又は難治性の濾胞性リンパ腫

医薬品・医療機器等の費用対効果の総合的評価案について

対象品目名：エプキンリ皮下注(エプコリタマブ 4mg/48mg)

製造販売業者名：ジェンマブ株式会社

使用目的又は効果：再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫(びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B 細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型 B 細胞リンパ腫)および再発又は難治性の濾胞性リンパ腫

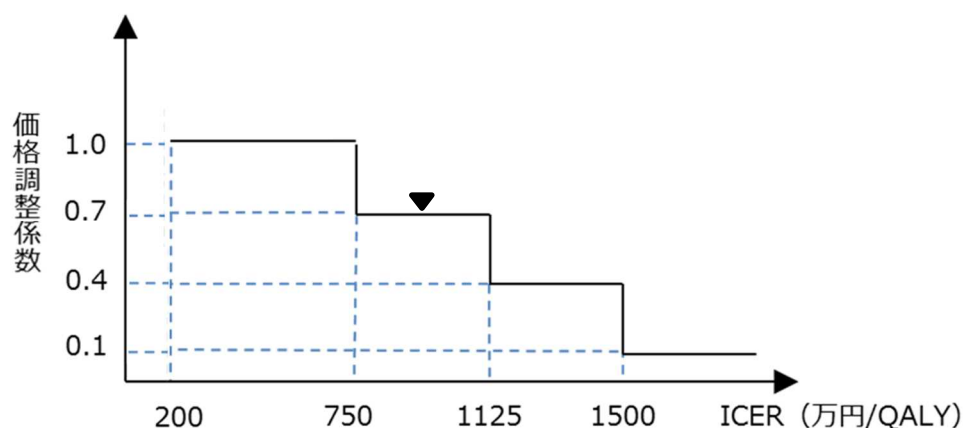
対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分 ※1、2	患者割合 (%)
抗 CD20 モノクローナル抗体製剤を含む少なくとも2つの標準的な治療が無効又は治療後に再発した、以下の再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫又は濾胞性リンパ腫：びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B 細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型 B 細胞リンパ腫、濾胞性リンパ腫 (Grade 3B)	R-ICE 療法	750 万円/QALY 以上 1,125 万円/QALY 未満※3	100.0

※1 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いた ICER の区分を用いる。

※2 決定された ICER の区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。

※3 価格調整における配慮への該当性について、該当あり。

(補足) 分析対象集団の ICER の区分 (有用性系加算等の価格調整係数)



(参考) エプキンリ皮下注の費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組み

分析対象集団	抗 CD20 モノクローナル抗体製剤を含む少なくとも 2 つの標準的な治療が無効又は治療後に再発した、以下の再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫又は濾胞性リンパ腫：びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B 細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型 B 細胞リンパ腫、濾胞性リンパ腫 (Grade 3B)
比較対照技術名	救済化学療法のうち最も安価なもの
その他	感度分析としてポラツズマブドチン併用ベンダムスチン・リツキシマブ療法を比較対照技術とした場合の分析を実施する。

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

(専門組織の見解)

- ・ 日本の場合は CAR-T 療法の実施割合が限定的ということだが、保険適用でも 3 種の CAR-T 療法が使える状況であるため、今後は、条件が整ってくれば症例数も増えてくると予想される。そのため、今回提案された枠組みに異論はないが、今後は CAR-T 療法を比較対照技術に含めた費用対効果評価もしっかりと行っていく必要があるのではないか。

(企業の不服意見)

- ・ なし

3. 費用対効果評価結果案策定に係る専門組織での主な検討事項

公的分析が再分析を行った主な点は以下の通りである。

(生存曲線について)

製造販売業者は EPCORE NHL-1 試験と SCHOLAR-1 試験のアンカーのない MAIC による比較結果を用いて全生存期間 (OS) とエプキンリの無増悪生存期間 (PFS) を、パラメトリックモデルを用いて推計した。この生存曲線では PFS と OS の曲線が独立して推計されるため、長期寛解を達成したとみなされる患者の割合に乖離が見られ、PFS よりも 2 割多くの患者が長期寛解を達成すると推定された。このため、生存期間が過剰に推計されていると考えた。したがって、寛解を考慮可能な mixture cure model を用いて生存曲線の推計を行った。

(治療継続率の設定について)

製造販売業者は、同様の観察比較の結果からエプキンリの治療継続率を長期推計した。また、治療開始後、一定の年数以上生存する患者は長期寛解を達成し、さらに追加の一定年経過時点でエプキンリの治療がすべて終了すると仮定していた。しかし、エプキンリの投与をいつまで継続するかの基準は明確に定められておらず、これらの過程の根拠は認められていない。一方で、長期寛解を達成した患者において、エプキンリのような高額医薬品を生涯にわたり使用し続けることは想定しにくいという点も理解できる。製造販売業者の想定した投与期間もおおむね妥当である。加えて投与期間に関するデータが欠如しており、臨床的な使用方法について確立していないことから、本論点について再分

析を実施する場合の具体的な投与期間の上限設定は困難である。上記のように一定の妥当性も有することから、製造販売業者の設定を受け入れた。

(長期寛解後の quality of life (QOL) 値の設定について)

製造販売業者の分析では、PFS 状態の QOL 値と進行後の QOL 値をそれぞれ設定し、PFS 状態においては長期寛解後に一般健康成人の QOL 値に達すると仮定している。しかし、累次の化学療法を実施した DLBCL 患者においては、悪化した健康状態が寛解したからといって必ずしも一般人と同等に戻るとは限らないと想定される。それが PFS における QOL 値と同等であるかは明らかではないが、保守的な値としてその下限値を採用した。このため、寛解後の QOL 値については、PFS 状態の QOL 値とすることが妥当である。

上記の論点に関し、企業側から公的分析の見解に対する意見はなかった。

以上を踏まえ、専門組織で議論し、生存曲線、治療継続率の設定及び長期寛解後の QOL 値について、下記のとおり、公的分析結果が妥当であると考えられた。

- ・ PFS と OS とで長期寛解を達成する患者割合に大きな乖離がみられたことから、寛解を考慮可能な mixture cure model を用いた公的分析における生存曲線の推計は妥当である。
- ・ 一定年数以上生存する患者は長期寛解を達成し、さらに追加の一定年経過時点でエブキンリの治療がすべて終了とする公的分析の仮定は、高額医薬品を生涯にわたり使用し続けることは想定しにくいことから、一定の妥当性を有する。
- ・ 三次治療以降の患者においては、寛解後も一定の QOL 低下が継続することが想定されたため、寛解後の QOL 値に、PFS 状態の QOL 値を当てはめることは妥当である。

<参考：本資料に係る留意事項>

- ・ 総合的評価では、企業分析及び公的分析双方とも一定の科学的妥当性が認められている。
- ・ 「専門組織での主な検討事項」は、双方の主な見解の相違部分を抜粋したものである。
- ・ 費用対効果評価の詳細については、国立保健医療科学院から公表される報告書を参照されたい。

(以上)