

2026年度費用対効果評価制度改革に対する意見

2025年8月6日
米国研究製薬工業協会

費用対効果評価制度のリスクと課題

費用対効果評価制度は、ドラッグ・ラグ/ロスの状況を悪化させないためにも、有用性系加算の評価と価格調整を行う現在の活用範囲を維持すべきである



世界において、価格決定や償還の可否判断に**費用対効果評価**を使用している国では、革新的な医薬品への患者さんのアクセスが悪化している。（別添1）



日本は、特許期間中における革新的医薬品の有用性系加算部分を対象とした価格引き下げ手段として、**費用対効果評価**を利用しており、その結果、市場の予見可能性を低下させている。（別添2）



日本政府は、費用対効果評価制度の拡大を検討しているが、**これにより薬価制度の予見可能性がさらに低下し**、薬価制度において慎重な評価により**付与されたインセンティブが不合理に削減されることになる**。（別添3）



2025年5月に米国トランプ大統領は、「公正な市場価格よりも低い価格で他国で販売されることを抑制する」ことを目的に、最恵国待遇薬価の導入に関する大統領令に署名した。本政策において、日本が参照国となる可能性があり、**企業が日本での特許期間中の薬価引き下げが米国での価格に波及することを懸念し、日本への新薬導入に慎重になることで**、ドラッグ・ラグ/ロスが悪化するリスクが大きく高まる恐れがある。

2026年度費用対効果評価制度改革に対する要望

現行制度の課題

制度拡大による特許期間中の価格引き下げリスクの高まり

- 費用対効果評価制度は、特許期間中の価格引き下げのメカニズムとして利用されている。
- 価格調整の範囲を拡大することにより、現行の薬価制度との矛盾が生じかねない。

分析および運用に関連した複数課題の特定

- 現行制度下において複数の分析方法、運用法に関する課題が特定されている。（ICERで評価できない価値に対する対応、比較対照技術の設定、不確実性に対する対応など。別添4-8）

現行の制度に関する客観的な検証が実施されていない

- 2024年度骨太の方針において、“費用対効果評価の更なる活用の在り方について、医薬品の革新性の適切な評価も含め、検討する”と明記されたが、検討されていない。

改革の要望

特許期間中の薬価を維持し制度拡大を行わない

- 現行の価格調整範囲や対象品目を拡大すべきでない。
- 本制度を保険償還の可否判断に使用すべきでない。

現行の制度における課題の改善

- 制度拡大の議論をする前に、業界が指摘している分析や運用の課題は改善されるべきである。（総合的評価では不確実性の高いICERの値だけでなく、臨床や統計の専門家の意見を含む複数の要素を考慮すべきである。別添4-8）

2025年度骨太の方針に基づく客観的な検証の実施

- 分析、運用に関する客観的検証が不可欠である。客観的な検証は、過去の分析結果や専門組織の議事録に基づき、医療経済学者、対象品目の疾患を専門とする臨床医、患者、統計学者を含む第三者の専門家によって実施されるべきである。

Appendix

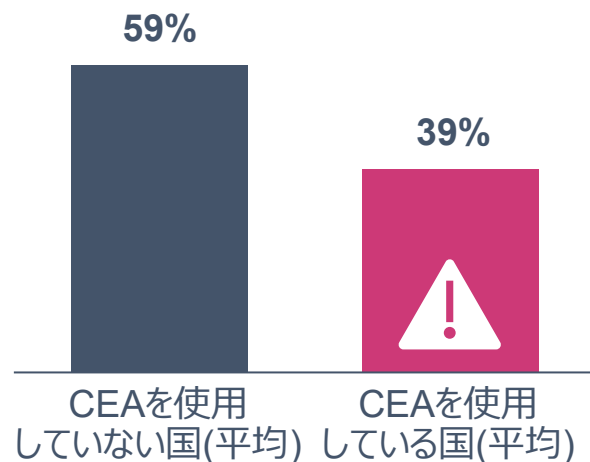


費用対効果評価(CEA)を価格設定や保険償還の可否判断に使用している国では、革新的医薬品への患者アクセスが悪化している

CEAを拡大することは、単に日本のドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの状況を悪化させる可能性が極めて高い

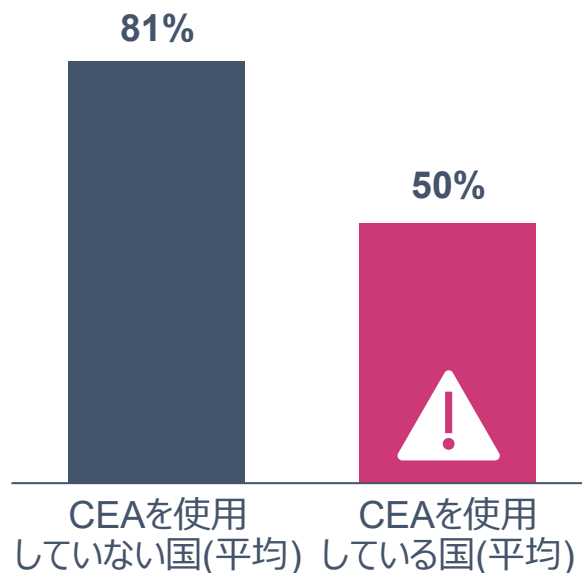
**CEAを使用する国では、
世界の新薬の上市の割合が低い**

(2014年から2023年末までに
発売された全500種類の新薬)



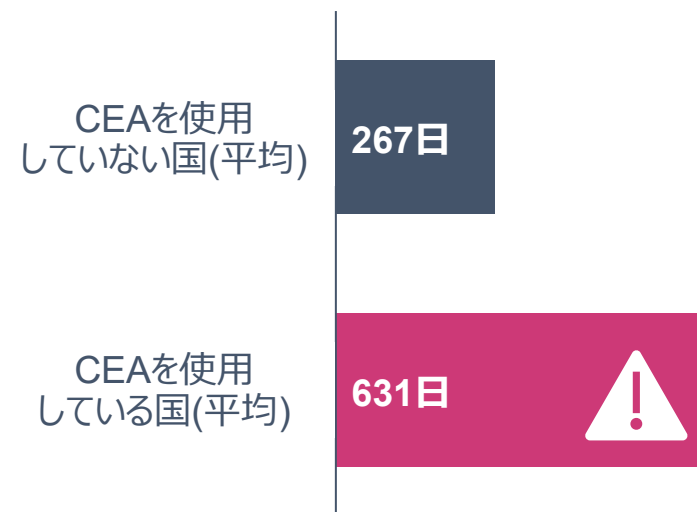
**CEAを使用する国では、
承認された医薬品であっても、
保険償還される割合が低い**

(2014年から2023年末までに
承認された全新薬)



**CEAを使用する国では、
患者さんの新薬へのアクセスに
長い遅延をもたらしている**

(2014年から2023年末までの
新薬の承認から保険償還までの日数)



これまでの評価において薬価が引き上げられた品目はない

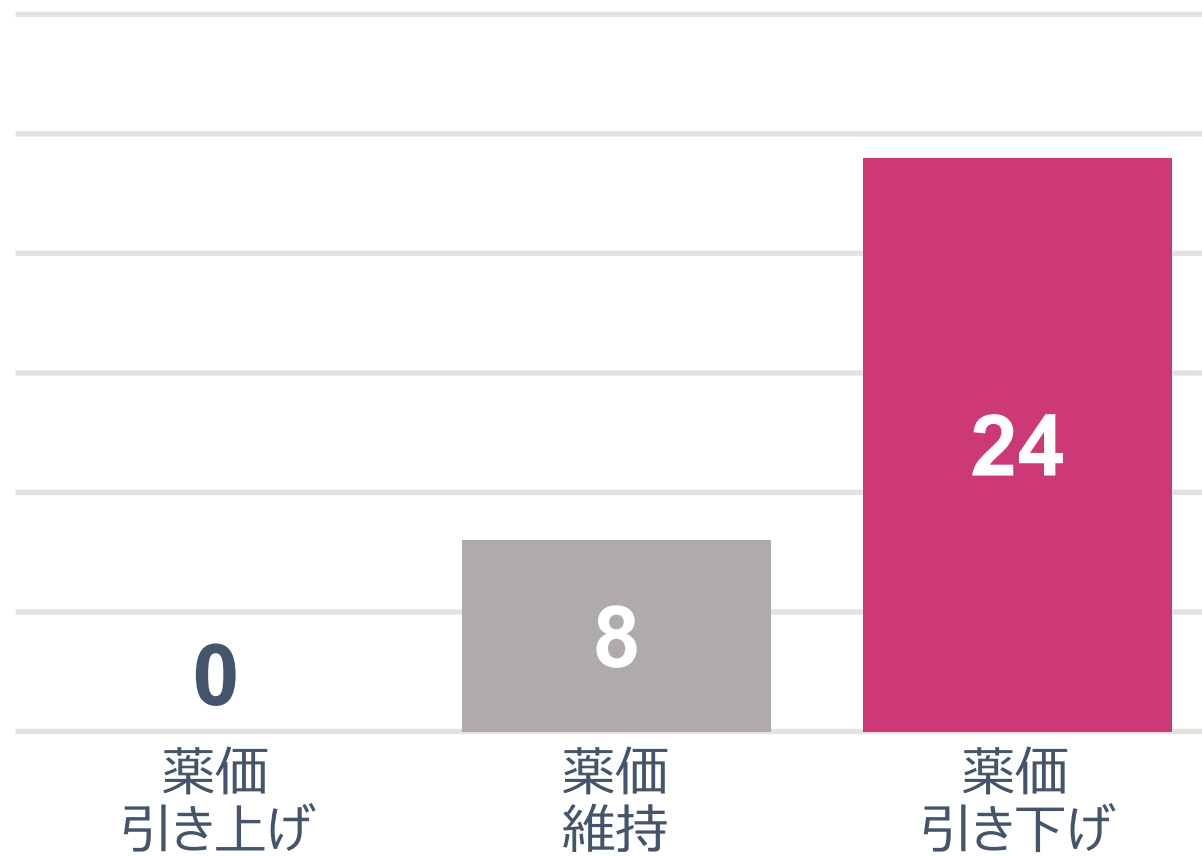
費用対効果評価は、有用性が評価された医薬品の薬価引き下げツールとして運用されている

費用対効果評価の現状 (2025年7月時点)¹

49 品目 指定

32 品目 評価終了

24 品目 価格引き下げ



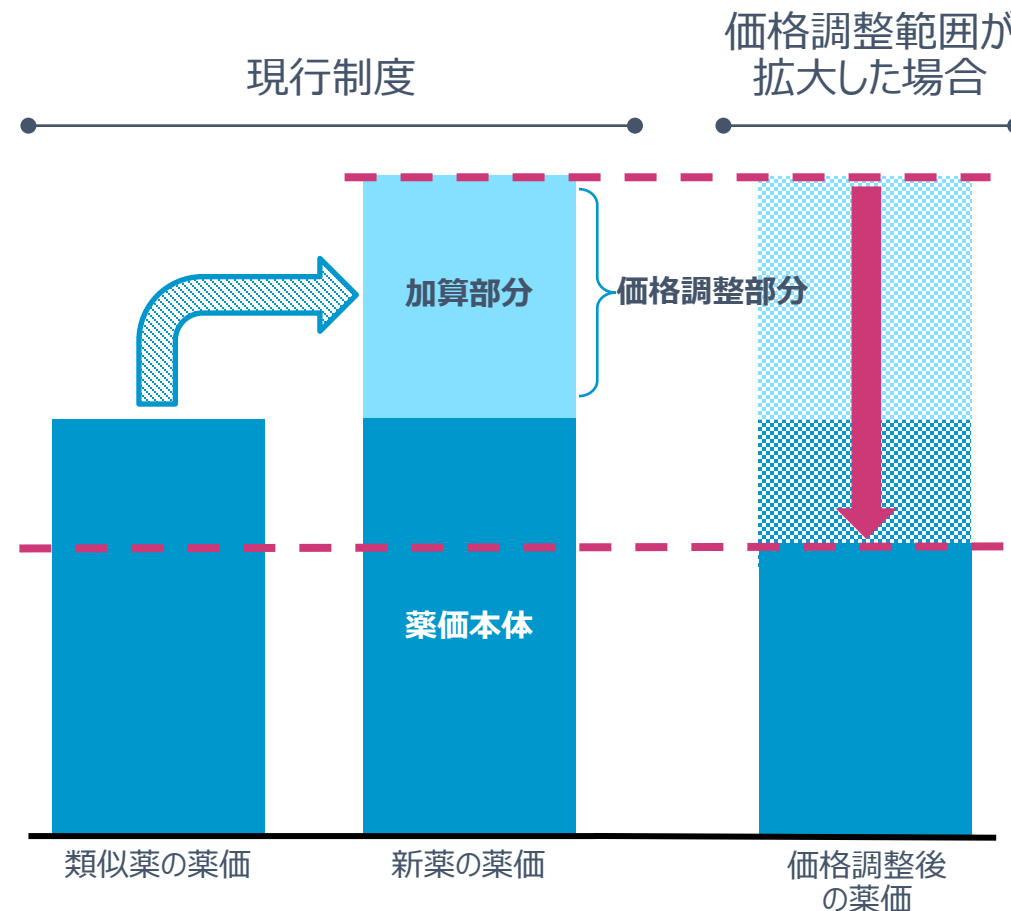
薬価制度との整合性の確保

価格調整範囲の拡大は、イノベーションの阻害につながる

価格調整範囲が拡大した場合

- 薬価制度との矛盾が生じる
 - 価格調整範囲の拡大により、新薬の価格が薬価本体や類似薬の薬価を下回る可能性がある。
 - 有用性系加算が付与された革新的な医薬品ほど、価格引き下げがおき、既存薬よりも価格が下がる。
 - 費用対効果評価で用いられる比較対照薬と薬価算定で用いられる類似薬が異なる場合、更なる不整合が生じる。（費用対効果評価指定品目のうち68.2%¹で、薬価算定時とは異なる比較対照薬が選定された。）
- 原価計算方式においては、薬価が製造原価よりも低くなる可能性がある。

日本市場の魅力の低下やドラッグラグ・ロスが悪化を招く恐れがあるため、価格調整範囲は拡大すべきではない。



ICERで評価できない価値への対応

費用対効果分析のみでは、評価しきれないイノベーションが存在する

PhRMAが考える現行制度の課題

- **利便性等の有用性はQoL値**、例えばEQ-5D-5L（移動の速度、身の回りの管理、ふだんの活動、痛み/不快感、不安/ふさぎ込み）¹では十分に評価できない。

薬価算定時に治療方法の改善（利便性、標準的治療法、侵襲性の軽減等）が評価された品目²⁻¹⁵

品目名	薬価算定時の加算根拠		品目名	薬価算定時の加算根拠	
テリルジー	利便性	3成分を1回で吸入可能	レクビオ	利便性	投与間隔の延長
ユルトミリス	効果の持続性	注射の頻度が1/4	エブキンリ	標準的治療法 利便性	海外ガイドラインで標準的療法 投与時間が大幅に短縮
リベルサス	侵襲性の低減	注射→経口投与	レプロジル	標準的治療法	ガイドラインで標準的治療法
ポライビー	標準的治療法	NCCNガイドラインで推奨レジメン	エルレフィオ	標準的治療法	海外ガイドラインで標準的療法
アリケイス	標準的治療法	欧米ガイドラインで標準的治療	ブリビアクト	利便性	漸増期間及び増量間隔の規定がない
ダラキューロ	利便性	投与時間が大幅に短縮	ケサンラ	利便性	投与期間の短縮
パドセブ	標準的治療法	ガイドラインで標準的治療法	アウィクリ	利便性	注射頻度の減少
ジスパル	標準的治療法	遅発性ジスキネシア治療剤として日本初	イムデトラ	標準的治療法	国内ガイドラインで推奨
ラゲブリオ	標準的治療 利便性	ガイドラインで標準的治療法 注射剤→経口剤			

検討いただきたい事項

- **QoL値で評価できない有用性（利便性等）は、総合的評価で配慮していただきたい。**

比較対照技術の選定

比較対照技術は一つを選ばざるを得ないため、臨床実態とかけ離れた薬剤が選ばれる場合がある

PhRMAが考える現行制度の課題

- 分析ガイドライン上では以下の記載があり、**比較対照技術は一つ選定すること**になっている¹。
 - ・ 評価を行う際の比較対照技術は、評価対象技術が分析対象集団への治療として導入された時点で、臨床的に幅広く使用されており、評価対象技術によって代替されると想定されるものとする。うち、治療効果がより高いものを一つ選定することが原則的な考え方である（4.1項）。
- 比較対照技術の候補が複数ある場合、一つを選ぶことにより、**臨床実態とかけ離れた薬剤**が選定された事例が散見される^{2, 3}。
 - ・ マンジャロの場合、比較対照技術は「GLP-1受容体作動薬注射剤のうち最も安価なもの」として、リクスミアが選択された²。同薬剤の市場シェア（当時）は1%未満^{4, *}であり、これは実臨床を反映しているとは考えがたかった。また、25年3月に販売中止となり⁵、既に実臨床から完全に消失した技術との比較をもってマンジャロの費用対効果が評価された状態にあり、前述の観点よりも更に実臨床から乖離したと言える。

検討いただきたい事項

- **新薬により置き換わる比較対照技術が複数ある場合、臨床実態に沿って複数の技術を選んでICERを算出し、これらの結果を総合的に評価して、意思決定に反映させることを検討いただきたい。**

不確実性に対する対応

ICERは不確実性を伴うため、1つのICERの値で意思決定することはリスクを伴う

PhRMAが考える現行制度の課題

- 費用対効果分析では、研究の実施時点までに集積、報告されている情報を利用して分析を行うため、**分析に用いるパラメータの情報源の選択や数値の精度によって結果に不確実性が生じる**ことが知られている¹。
 - 例えば、臨床試験のデータが実臨床での効果を完全に反映しないことがある。また、新しい薬の長期的な効果や安全性は発売後にしか分からないことが多く、長期的な費用対効果の予測が難しい。
- 実際に公的分析においても、再分析と追加分析で**ICERの値に数倍の乖離が生じたこともある**。

例：エムガルディの費用対効果分析の結果²

分析集団*	①企業分析	②公的分析（再分析）	③公的分析（追加分析）	②/③
集団 (a)	608万円/QALY	6,113万円/QALY	1,106万円/QALY	5.5倍
集団 (b)	269万円/QALY	2,063万円/QALY	537万円/QALY	3.8倍
集団 (c)	285万円/QALY	17.8万円/QALY	574万円/QALY	3.1倍
集団 (d)	144万円/QALY	792万円/QALY	346万円/QALY	2.3倍

検討いただきたい事項

- **複数のシナリオやICERの値以外の要素を加味して、総合的に意思決定する仕組みを検討いただきたい。**

ICERの基準値に基づく意思決定

不確実を伴うICERの基準値を用いて、価格調整率を機械的に決定するのは日本だけである

PhRMAが考える現行制度の課題

- ICERの値は、分析に用いるパラメータの情報源の選択や数値の精度によって、**不確実性が生じる**¹。
- 日本では、ICERの基準値（500万円、750万円、1,000万円/QALY）²が設定され、費用対効果分析で得られた**ICERの値が基準値を超えるかどうかで、価格調整率が機械的に決定される**。
- 費用対効果評価を行っている海外諸国においては、**ICERの値のみに基づく意思決定は行われていない**^{3, 4}。
 - ・ 海外諸国で実施されている総合的評価（アプレイザル）において、ICERの値だけでなく、データの不確実性に対する解釈、医療ニーズなどを複数の立場のステークホルダーと共に結論を出している。

検討いただきたい事項

- **ICERの値以外の要素も加味して、総合的に意思決定する仕組みを検討いただきたい。**

統計学的な解釈

統計的な有意差が認められていない場合、データの取り扱いには丁寧な議論が必要である

PhRMAが考える現行制度の課題

- 分析ガイドライン上¹では、データソースについて以下の記載がある。
 - ・ 評価対象技術と比較対照技術における値の差の有無が結果に大きな影響を与えるパラメータについて、**統計学的に有意な差が認められていない場合は、両群で同じ値を用いることを原則とする**（9.4項）。
- **分析対象集団を分けた場合、検出力が低下し、統計学的な有意差を示しにくくなる。**
- ノクサフィルの費用対効果評価における専門組織において、以下の指摘がある²。
 - ・ 特に統計学的仮説検定において、**有意差がないから同じにしようというのは明らかに統計の誤用**という形にもなりますので、有意差がない、優越性が示されていないということで、併合した解析をするというのであれば、少しガイドラインの見直し等も含めて検討すべきなのかなとは考えています。

検討いただきたい事項

- **統計学的な有意差が認められていない場合、その他の要素（統計や臨床専門家の見解等）も加味して判断いただきたい。**