

中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会（第 76 回）議事次第

令和 8 年 1 月 16 日(金)

10:00～

議 題

○令和 8 年度費用対効果評価制度の見直しについて

令和８年度費用対効果評価制度改革に係る医薬品、医療機器及び再生医療等製品の 費用対効果評価に関する取扱いの見直しについて（案）

「令和８年度費用対効果評価制度改革の骨子」（令和７年１２月２６日中央社会保険医療協議会了解）に基づき、「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱い」、「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」、「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」、「薬価算定の基準」及び「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準」を次のように改正するとともに、所要の記載整備を行う。

１ 費用対効果評価制度の検証について

《骨子》

（１）費用対効果評価制度導入前後における保険収載の状況

- 制度導入後の新規収載数について、医薬品は５０品目前後、医療機器は２５品目前後であった。

（２）費用対効果評価指定品目の市場規模

- ２０２５年９月１日までに費用対効果評価に指定された６７品目のうち、収載時の予測市場規模（ピーク時）は中央値１５６億円/年であった。

（３）２０２５年９月１日までに費用対効果評価が終了した結果

- 費用対効果評価が終了した４９品目のうち、費用対効果評価分析が実施されたものは３９品目であった。そのうち、公的分析が実施されず企業分析が受け入れられたものが２品目、費用対効果評価専門組織の決定に対して製造販売業者から不服申立てがあったものは２０品目であった。
- 費用対効果評価が終了した４９品目のうち、価格調整が行われた３８品目で、価格全体に対する価格調整額の割合は中央値－４．２９％であった。
- 価格調整後の価格を用いて改めて ICER を算出した際に、ICER の区分が変化した品目は１品目のみであった。
- 比較対照技術と比べて追加的有用性が示されなかった１８品目のうち、６品目においては全ての分析対象集団で追加的有用性が示されなかった。

（４）今後の対応について

- 本部会において一定の検証を実施した。その過程において指摘された、関係業界からの意見等を踏まえ、半年程度の技術的な議論を行う。今後は、令和８年９月に中医協での検証報告の議論を行い、それを踏まえ、制度の透明性等を確保する観点から、引き続き分析プロセスの見直しを実施していくこととする。

（改正事項なし）

2 分析方法に関する事項について

(1) 費用対効果評価終了後の品目指定について

《骨子》

(1) 費用対効果評価終了後の品目指定について

- 「費用対効果評価終了後に国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたと判断されたもの」の指定手続において、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織での手続を不要とし、費用対効果評価専門組織からの品目指定の提案を中央社会保険医療協議会総会で承認することとする。

【改正後】

「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」

1 対象品目の指定

(2) 対象品目の指定手続

- ② H4区分の指定基準を満たす可能性のある品目又は保険適用時に指定基準を満たさない品目のうち、保険適用後に使用方法、適用疾病等の変化により市場拡大したこと、費用対効果評価終了後に、海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由によりH1区分、H3区分、H4区分若しくはH5区分又は評価候補品目の指定基準を満たす可能性のある品目については、「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」又は「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」に規定する手続により、薬価算定組織又は保険医療材料等専門組織費用対効果評価専門組織において対象品目案及び評価候補品目案を決定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。中央社会保険医療協議会総会において当該報告内容を審議し、費用対効果評価の対象品目及び評価候補品目を指定する。
- ③ 評価候補品目については、中央社会保険医療協議会総会において、費用対効果評価の対象とすることが適当と認められるものを、H2区分の対象品目として指定する。ただし、②の手続により保険適用後に指定された評価候補品目については、中央社会保険医療協議会総会において、年間の評価可能品目数等を踏まえて費用対効果評価の対象とすることが適当と認めるものを、H2区分の対象品目として指定する。
- ④ 費用対効果評価終了後に、海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由によりH3区分又はH4区分の指定基準を満たす可能性のある品目については、費用対効果評価専門組織において対象品目案を決定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。中央社会保険医療協議会総会において当該報告内容を審議し、費用対効果評価の対象品目を指定する。

4 費用対効果評価専門組織の開催

(6) 対象品目案の策定

厚生労働省及び費用対効果評価専門組織は、次の手続により、費用対効果評価の対象品目を策定する。

- ① 1（2）③における費用対効果評価終了後に海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由により H3 区分又は H4 区分の指定基準を満たす可能性のある品目については、費用対効果評価専門組織が国立保健医療科学院から意見を聴取する。
- ② 費用対効果評価専門組織は、①で聴取した意見に基づき指定基準の該当性を検討し、費用対効果評価の対象とすることが適当と認められるものについては、中央社会保険医療協議会総会での審議の前に、意見を付して予め当該品目の製造販売業者に通知する。
- ③ 通知された費用対効果評価の対象品目案について不服がある当該品目の製造販売業者は、別紙様式 3 に定める費用対効果評価の対象品目案不服意見書を別に指定する期限までに提出することができる。この場合、通知された費用対効果評価の対象品目案が適当ではないと主張する理由について、前記 1（1）の指定基準に基づいて説明する資料を根拠とともに添付する。
- ④ 費用対効果評価の対象品目案不服意見書を提出した製造販売業者は、予め定められた時間の範囲内で費用対効果評価専門組織に出席して、直接の意見表明を行うことができる。費用対効果評価専門組織は、当該意見を踏まえ、再度対象品目案を決定する。この対象品目案を予め当該品目の製造販売業者に通知し、不服の有無について確認する。
- ⑤ 通知された対象品目案について、当該品目の製造販売業者に不服がないことが確認された品目及び製造販売業者の不服があっても費用対効果評価専門組織の検討を経て最終的に費用対効果評価が適切と考えられる品目については、その品目案を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」

4 既収載品の費用対効果評価の手続

薬価基準既収載品のうち、「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」（令和 8 年●月●日医政発●●第●、保発●●第●号）に規定する費用対効果評価の対象となる可能性のある品目のうち、「費用対効果評価終了後に、海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由により指定基準を満たす可能性のある品目」以外の品目については、次の手順により指定基準の該当性を検討する。なお、厚生労働省は、対象品目案の検討に当たって、必要に応じ薬価算定組織の意見を聴くことができる。

「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」

9 既収載品に係る費用対効果評価の手続

材料価格基準に規定する機能区分に属する特定保険医療材料のうち、「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」（令和 8 年●月●日医政発●●第●、保発●●第●号）に規定する費用対効果評価の対象となる可能性のある品目のう

ち、「費用対効果評価終了後に、海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由により指定基準を満たす可能性のある品目」以外の品目については、次の手順により指定基準の該当性を検討する。なお、厚生労働省は、対象品目案の検討に当たって、必要に応じ保険医療材料等専門組織の意見を聴くことができる。

(2) 比較対照技術のあり方について

《骨子》

(2) 比較対照技術のあり方について

- 比較対照技術の設定に係る下記の考え方が明確となるよう、以下のとおり整理する。
 - ① 比較対照技術は、臨床的に幅広く用いられているもののうち、治療効果がより高いものを1つ選定する。
 - ② 一意的に決めることが難しい場合、費用対効果の程度を考慮する観点から相対的に安価なものを選択することもありうるが、他の考慮要素等を踏まえつつ、決定する。

(別紙参照)

(3) 介護費用の取扱いについて

《骨子》

(3) 介護費用の取扱いについて

- 介護費用の分析の取扱いに関しては、レケンビの事例で指摘された技術的・学術的な課題を踏まえ、諸外国での介護保険制度や費用対効果評価への活用状況も参考とし、引き続き研究する。
- 介護費用を含めた分析については、過去の事例を分析ガイドラインにおいて参考とできるようにしつつ、引き続き事例を集積する。
- 費用対効果評価における介護費用の取扱いは、医療保険制度の基本的な考え方に関わる問題であり、価格調整への活用については、引き続き議論する。

(別紙参照)

(4) 追加的有用性について

《骨子》

(4) 追加的有用性について

- 費用対効果評価における追加的有用性と、薬価算定における「有用性」が混同されることから、明確化を図る観点で、「追加的有用性」を「比較技術に対する健康アウトカム指標での改善」と表現する。

(別紙参照)

(5) 不確実性を踏まえた対応

《骨子》

(5) 不確実性を踏まえた対応

- ICER は一定の不確実性があることを前提に、「ICER の区分」として幅を持たせて価格調整率を決定してきたことを踏まえ、費用対効果評価の実施にあたっては、これまで通り ICER を用いて評価し、不確実性の検討を含めて総合的評価を行うことを基本とする。
- 利便性、効果の持続性、標準的治療法であること等が ICER で十分に評価されているかは、諸外国の状況に関する調査を踏まえ、引き続き検討する。

(改正事項なし)

(6) リアルワールドデータの活用について

《骨子》

(6) リアルワールドデータの活用について

- 費用対効果評価におけるリアルワールドデータの活用の課題について整理検討する。
- リアルワールドデータが得られた場合の取扱いについて、諸外国での活用事例を踏まえつつ、引き続き検討する。

(改正事項なし)

(7) 価格調整の対象範囲のあり方について

《骨子》

(7) 価格調整の対象範囲のあり方について

- 令和 8 年度診療報酬改定において、価格引き上げの条件については、以下のように変更することとする。
 - ・ 「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること。」、「対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と著しく異なる等一般的な改良の範囲を超えた品目であること。」とあるものを、「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の作用機序を有すること。」、「対象品目の基本構造や

作用原理が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の機序を有すること。」とする。

【改正後】

「薬価算定の基準について」

別表 12 費用対効果評価に基づく価格調整の計算方法

2 価格調整の計算方法

(1) 類似薬効比較方式等により算定された医薬品

① 略

② 価格調整係数 (β)

ア 対象となる医薬品の費用及び効果が費用対効果評価における比較対照技術（比較対照品目を含む。以下同じ。）より増加し、ICER が算出可能な場合、価格調整係数 (β) は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i ICER が 200 万円/QALY 未満の品目であって、価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当するもの 1.25

（一）略

（二）対象品目の薬理作用等が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の作用機序を有すること。

ii ~ vi 略

イ 対象となる医薬品の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であり、かつ費用が削減され、ICER が算出不可可能な場合、価格調整係数 (β) は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i 価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当する品目 1.5

（一）対象品目の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であることが、メタ解析及びシステマチックレビューを除く臨床試験により示されていること。

（二）対象品目の薬理作用等が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の作用機序を有すること。

ii 略

「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」

別表 9 費用対効果評価に基づく価格調整の計算方法

2 価格調整の計算方法

(1) 類似機能区分比較方式又は原価計算方式（開示度が 50%以上のものに限る。）により算定された特定保険医療材料

① 略

② 価格調整係数 (β)

ア 対象となる特定保険医療材料の費用及び効果が費用対効果評価における比較対照技術（比較対照品目を含む。以下同じ。）より増加し、ICERが算出可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i ICERが200万円/QALY未満の品目であって、価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当するもの 1.25

（一）略

（二）対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の機序を有すること。

ii～vi 略

イ 対象となる特定保険医療材料の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であり、かつ費用が削減され、ICERが算出不可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i 価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当する品目 1.5

（一）対象品目の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であることが、メタ解析及びシステマチックレビューを除く臨床試験により示されていること。

（二）対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の機序を有すること。

ii 略

《骨子》

（７）価格調整の対象範囲のあり方について

○ 費用対効果を、より活用していく観点から、追加的有用性が示されず、ICERの区分が「費用増加」となった分析対象集団の価格調整について、有用性系加算部分に価格調整係数を乗じる現行の方法ではなく、例えば以下を含め、政策決定の透明性や説明責任を高めるよう、検証を踏まえつつ、見直しを図る。ただし、令和8年4月以降に評価結果が中医協に報告された品目については、例外的に施行を保留とし、令和8年9月に中医協での検証報告の議論が終わった後、具体的な方法の詳細について定めた上で、価格調整を実施することとする。

・ 価格調整の方法について

比較対照技術の1日薬価（評価対象技術が医療機器の場合は、治療期間における1日あたりの医療機器の費用。以下同じ。）を評価対象技術の1日薬価で除して得た比を、評価対象技術の価格調整前の価格に乗じた額を価格調整後の価格とする。

・ 調整後の価格の下限について

価格調整後の価格の下限は、価格全体の85%（調整額が価格全体の15%）とすることを基本に、引き続き議論する。

【改正後】

「薬価算定の基準について」

第4章 実施時期等

1 実施時期等

- (7) 第3章第12節の規定は、令和8年4月以降に中央社会保険医療協議会総会に費用対効果評価案が報告された品目に適用する。別表12の規定は、別途定める通知が発出された後には当該通知の定めによる。また、上記品目は、当該通知が発出された後に当該通知の定めにより改めて価格調整を行う。

「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」

第8章 実施時期等

第1節 実施時期等

- 3 第7章の規定は、令和8年6月以降に中央社会保険医療協議会総会に費用対効果評価案が報告された品目に適用する。別表9の規定は、別途定める通知が発出された後には当該通知の定めによる。また、上記品目は、当該通知が発出された後に当該通知の定めにより改めて価格調整を行う。

(8) 配慮が必要な対象について

《骨子》

(8) 配慮が必要な対象について

- 配慮が必要な対象について、具体的にどのような疾患や病態に対して配慮を行っているか、諸外国の事例を踏まえながら、引き続き議論していくこととする。

(改正事項なし)

(9) 医療機器の特性に応じた対応について

《骨子》

(9) 医療機器の特性に応じた対応について

- 医療機器に関する費用対効果評価について、諸外国の費用対効果評価の取扱い等を参考に、引き続き議論していくこととする。

(改正事項なし)

(10) 費用対効果評価の結果の活用について

《骨子》

(10) 費用対効果評価の結果の活用について

- 費用対効果評価を終えた医薬品、医療機器等の評価結果をより活用する観点から、厚生労働省及び国立保健医療科学院において、関係学会や関係機関に対して必

要な情報提供を行うとともに、各学会における診療ガイドラインへの経済性評価の反映や診療現場での普及を促進する。

(改正事項なし)

3 分析体制の充実に関する事項について

《骨子》

3 分析体制の充実に関する事項について

現在は、2大学（立命館大学及び慶應義塾大学）が公的分析班として分析を担当しているが、今後も対象品目の増加が予想される中で公的分析に係る体制の充実が課題となっている。

- 公的分析結果の学術的な取扱いについては、国立保健医療科学院において、報告書としてホームページに公開されている分析結果を論文形式で公的刊行物等に掲載しており、引き続き、こうした取組の進捗状況を確認する。
- 厚生労働省において、引き続き、関係学会等に対する費用対効果評価制度の周知や人材育成並びに分析体制への支援を行い、公的分析班に携わる人材の確保及び組織の充実を行う。
- 海外の評価実施機関における実務経験や研究機会を通じて、国際的に標準となっている知見をより早期に取り入れるための支援を行うことを検討する。

(改正事項なし)

目次

<u>1 ガイドラインの目的</u>1
<u>2 分析の立場</u>2
<u>3 分析対象集団</u>3
<u>4 比較対照技術</u>4
<u>5 比較技術に対する健康アウトカム指標での改善(追加的有用性)</u>5
<u>6 分析手法</u>9
<u>7 分析期間</u>10
<u>8 効果指標の選択</u>11
<u>9 データソース(費用を除く)</u>14
<u>10 費用の算出</u>16
<u>11 公的介護費・生産性損失の取り扱い</u>18
<u>12 割引</u>20
<u>13 モデル分析</u>21
<u>14 不確実性の取り扱い</u>23
<u>用語集</u>24
<u>略語一覧</u>30

1 ガイドラインの目的

1.1 本ガイドラインは、中央社会保険医療協議会において、評価対象として選定された医薬品・医療機器・再生医療等製品(以下、評価対象技術)の費用対効果評価を実施するにあたって用いるべき分析方法を提示している。

1.2 本ガイドラインは製造販売業者により提出される分析と公的分析を対象としている。

1.3 本ガイドラインの具体的な適用については、国立保健医療科学院と製造販売業者の間で、必要に応じて評価プロセス内で協議する。

2 分析の立場

2.1 分析を行う際には、分析の立場を明記し、それに応じた費用の範囲を決めなければならない。

2.2 費用や比較対照技術、対象集団などについて公的医療保険制度の範囲で実施する「公的医療の立場」を基本とする。

2.2.1 「公的医療の立場」以外の立場から分析を実施する場合でも、「公的医療の立場」の分析を実施しなければならない。

2.2.2 一部の予防技術(検診やワクチン等)など厳密には公的医療保険制度に含まれないものでも、それに準ずる医療技術であれば、公的医療保険制度に含まれるものと同様の取り扱いをした分析を実施する。

2.3 公的介護費へ与える影響が、評価対象技術にとって重要である場合には、「公的医療・介護の立場」の分析を行ってもよい。

2.4 評価対象技術の導入が生産性に直接の影響を与える場合には、より広範な費用を考慮する立場からの分析を行い、生産性損失を費用に含めてもよい。

3 分析対象集団

3.1 品目の指定時点において、評価対象技術の適応症となる患者を分析対象集団とする。

3.1.1 品目の指定から分析枠組み決定までの間に適応症が追加される場合は、それらの適応についても原則として分析対象に含める。

3.1.2 「3.1.1」で定める期間より後に新たな適応症が追加され、評価結果に影響を与えと考えられる場合、当初の評価終了後に改めて評価を実施する。

3.2 複数の適応がある場合、あるいは同一疾患内においても治療成績や使用方法・用法用量、比較対照技術が異なる主要な集団がある場合は、各集団についてそれぞれ分析を実施することを原則とする。

3.2.1 ただし、「3.2」を実施することが困難な状況下で、患者数や疾患の性質等を勘案して結果に与える影響が限定的な場合には、~~協議における両者(製造販売業者と国立保健医療科学院/公的分析班)~~以下同様)の合意のもとで適切であれば、分析対象集団から一部集団を除外できる。

3.3 各集団において、評価対象品目に関する現在の臨床実態や使用実績等を考慮して、長期的な観点からの患者割合(特許期間の累積患者数に基づく患者割合等)を推計することを原則とする。

3.3.1 推計が困難な場合は、上市から一定期間後の安定した状態における断面の患者割合を用いてもよい。

3.3.2 短期間における無視しうる影響(例えば評価対象技術の導入期における待機患者の影響など)は含めない。

4 比較対照技術

4.1 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。

4.1.1 「臨床的に幅広く使用されている」とは、使用患者数のシェアで一律に決めるものではなく、診療ガイドラインに記載があるなど臨床的に標準的な治療法として用いられていることを意味する。

4.1.2 「治療効果がより高いもの」を検討するにあたっては、既存の公表された費用対効果評価における追加的有用性の評価についても参照する。

4.2 「4.1」において、一意に決めることが難しい場合は、無作為化比較試験(Randomized controlled trial: RCT)等における比較対照技術、価格算定上の類似技術、費用対効果の程度等も考慮して最も妥当と考えられる比較対照技術を両者の協議により選定する。

4.2.1 「4.2」においては、費用対効果の観点から相対的に安価なものを選択することもありうる。ただし、他の要素等も考慮しつつ、最も妥当と考えられる比較対照技術を選定する。

4.3 比較対照技術としては無治療や経過観察を用いることもできる。

4.4 「4.3」の場合を除いて、比較対照技術は原則として公的医療保険で使用が認められているもの(適切な場合は審査情報提供事例も含む)とする。

4.5 比較対照技術として選定した理由については十分に説明する。

5 比較技術に対する健康アウトカム指標での改善(追加的有用性)

5.1 費用対効果を検討するにあたっては、評価対象技術の比較対照技術に対する追加的な有用性「比較技術に対する健康アウトカム指標での改善(追加的有用性)」がデータによって示されているかをまず評価する。

5.1.1 健康アウトカム指標は、臨床的な有効性・安全性・健康関連 QOL の観点のうち、評価対象技術の特性を評価する上で、適切なもの(真のアウトカム指標など)を用いる。

5.2 追加的な有用性を検討する際に、「4.」で選定した比較対照技術に対する RCT のシステマティックレビュー(Systematic review: SR)を実施し、追加的有用性の有無健康アウトカム指標での改善を評価する。適切なものであれば公開されていない臨床研究や治験の結果等を含めてよい。

5.2.1 SR を実施する際には、リサーチクエスチョン(Research question: RQ)を明確に提示する。例えば PICO(P: 患者(Patient), I: 介入(Intervention), C: 比較対照(Comparator), O: アウトカム(Outcome))などで構造化された RQ を定義する。

5.2.2 評価対象技術あるいは「4.」で選定した比較対照技術とアウトカムが同等であると考えられる同一作用機序あるいは同一機能区分等の類似技術について、それらを SR における介入(I)あるいは比較対照(C)に含めてもよい。

5.2.3 ~~「5.2.1」におけるアウトカム(O)指標は、臨床的な有効性・安全性・健康関連 QOL の観点のうち、評価対象技術の特性を評価する上で、適切なもの(真のアウトカム指標など)を用いる。~~

5.2.3 PRISMA(Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses)声明の原則に従い、研究の組み入れ基準・除外基準、使用したデータベース、検索式、論文選択のプロセス(情報フロー図を含む)等を記載する。

5.2.4 信頼できる既存の SR が存在する場合、それらを活用することは可能であるが、RQ に合致するか、最新の文献まで含まれているか等を検討した上で、そのま

ま使用するあるいは追加的な SR を実施して研究を追加する等の検討を行う。

5.2.5 実施することが適切な場合は、対比較のメタアナリシスを用いて各試験を統合した結果を提示する。その場合、用いた統計手法、異質性の評価、フォレストプロット、統合した値とその信頼区間等を明らかにする。

5.2.6 SR における文献検索終了時点は、分析枠組みが決定された後から製造販売業者による分析提出までの一時点に決める。

5.2.7 「5.2.6」の文献検索期間終了後に費用対効果評価において重要と考えられる臨床研究(症例数の多い主要な研究結果、現在の知見と異なる結果が得られた信頼性の高い研究等)が公表等された場合、公的分析においてはその影響等を考慮し、それらを含めることを検討する。

5.3 「5.2」の SR の結果、適切なものが存在しない場合、「5.2」のプロセスに基づき、アウトカムを比較した非 RCT(観察研究等)の SR を実施し、追加的有用性を比較技術に対する健康アウトカム指標での改善を評価する。

5.3.1 非 RCT は RCT と比べて種々のバイアスが入りやすいので、研究の質(研究デザイン、群間での患者背景の差異、統計解析手法、患者数や施設数等)について十分に説明しなければならない。

5.3.2 レセプトやレジストリーなど既存の大規模なデータベース(リアルワールドデータ)を用いた研究については、研究の質にばらつきがあることから、データベースの性質、国内外における医療環境の差異、変数やイベントの定義、その妥当性やバリデーションの有無、解析手法、日本への結果の外挿可能性等について十分に説明しなければならない。

5.4 評価対象技術の有効性の評価において、一定の質を有する RCT が存在する場合、非 RCT による結果は RCT の結果を補完するものであることが基本的な考え方である。

5.5 「4.」で選定した比較対照技術との RCT は存在しないが、その他の RCT が存在する場合、SR の結果を用いて、間接比較により追加的有用性の評価を比較技術に対する健康アウトカム指標での改善を評価してもよい。

5.6 単群試験しか存在しない場合は、評価対象技術と比較対照技術それぞれについての SR に基づき、間接比較を実施する。

5.7 間接比較を行う場合、以下を原則的な考え方とする。

5.7.1 個人レベルのデータを用いることができる場合、MAIC(Matching-adjusted indirect comparison: マッチング調整された間接比較)等を用いて患者背景の違いなど適切な補正を行う。

5.7.2 個人レベルのデータを用いることができない場合、あるいは手法としてより望ましいと考えられる場合は、複数の RCT を用いたネットワークメタアナリシスなどを実施する。

5.7.3 「5.7.1」および「5.7.2」においては、アンカーのある分析手法に基づくことが望ましい。

5.7.4 間接比較を行う場合は、間接比較を可能とする仮定や前提条件(疾患、重症度、患者背景等の異質性や試験の同質性など)についても十分に説明しなければならない。

5.7.5 個人レベルデータも比較試験結果も利用できない場合、その他の代替手段が存在しなければ naïve indirect comparison(単純な間接比較)を用いて評価をすることもできる。この場合、群間の比較可能性について、より詳細な説明が必要である。

5.7.6 複数の分析手法が実施可能な場合、実施した方法を選択した理由(仮定のあてはまりなど)について十分に説明し、必要に応じて異なる手法による感度分析を実施する。

5.7.7 ネットワークメタアナリシスを実施する場合、以下の点についても留意し、設定した理由を十分に説明する。必要に応じて、下記の設定について感度分析を実施することを推奨する。

- (A) ネットワークの広さ(治療群の数)
- (B) 各群の設定(薬効群等でまとめるか個別製品ごとに設定するか)
- (C) 投与量や投与方法の違う介入の取り扱い

(D) 日本における未承認薬等の取り扱い

5.7.8 ネットワークメタアナリシスを実施した場合、第三者が再現可能なデータと解析プログラムを可能な限り提出することとする。

5.8 追加的有用性の評価に用いた各研究(SR で特定したものやネットワークメタアナリシスに組み込んだものなど)については、文献情報を報告書中に提示する。

5.9 「5.3」から「5.7」までの手法において得られた結果が、研究の質に課題があると判断されるものの治療効果が劣っているとは考えられない場合には、評価対象技術のアウトカムが比較対照技術と同等であるという前提で、「6.」の分析を実施する。

5.10 ヒトを対象とした適切な臨床研究が存在しない場合、適切ならば、医薬品医療機器総合機構からの薬事承認をもって、比較対照技術と同等であるという前提で、「6.」の分析を実施する。

5.11 「5.2」から「5.7」までの結果、アウトカムが比較対照技術と比べて劣ると判断される場合は、費用対効果の分析は実施しない。

6 分析手法

6.1 効果を金銭換算せず、費用と効果を別々に推計する費用効果分析を分析手法として用いることを原則とする。

6.2 「5.」の分析に基づき、追加的有用性比較技術に対する健康アウトカム指標での改善が示されていると判断される場合には、各群の期待費用と期待効果から増分費用効果比 (Incremental cost-effectiveness ratio: ICER)を算出する。

6.3 ただし、以下の場合については、各群の期待費用と期待効果のみを提示して、ICER は算出しないこととする。

6.3.1 比較対照技術と比べて効果が高く、かつ費用が安い場合。このとき、ICER を算出せずに優位(dominant)であるとする。

6.3.2 「5.」の分析により、追加的有用性が示されていない比較技術に対する健康アウトカム指標での改善があると判断できない場合には、比較対照技術と費用を比較する(いわゆる「費用最小化分析(Cost-minimization analysis: CMA)」)。このとき、結果は費用削減(同等含む)あるいは費用増加とする。

6.3.3 「5.」の分析により、追加的有用性が示された場合でも比較技術に対する健康アウトカム指標での改善があると判断されているも、増分効果がわずかに正で、増分費用も点推定値としては正負あるものの、ほぼゼロとみなせるときに、結果の不確実性が大きく、パラメータの軽微な変更等によっても見かけ上 ICER が大きく変動することがある。このとき、結果は費用及び効果同等とする。

6.4 「3.2」あるいは「3.2.1」により、分析対象となる複数の疾患や、同一疾患内での複数の分析集団がある場合、ICER は疾患や集団ごとに算出する。

6.5 評価対象技術に関する既存の費用効果分析や主要な諸外国の医療技術評価機関において公表された評価結果が既に存在する場合は、それらもあわせて示す。

7 分析期間

7.1 評価対象技術の費用や効果におよぼす影響を評価するのに十分に長い分析期間を用いる。

7.2 費用と効果は、原則として同じ分析期間を用いる。

7.3 分析期間については、そのように設定した理由を説明すること。

8 効果指標の選択

8.1 効果指標は質調整生存年(Quality-adjusted life year: QALY)を用いることを原則とする。

8.1.1 QALY を算出することが困難であり、かつ CMA を実施する場合、適切であれば、QALY 以外の評価尺度を使用することもできる。

8.2 QALY を算出する際の QOL 値は、選好に基づく尺度(preference-based measure: PBM)により測定したものをを用いることを原則とする。

8.2.1 QOL 値は日本における一般集団の選好が反映されたものをを用いる。

8.2.2 使用する PBM としては、日本語版の EQ-5D-5L を第一選択として推奨する。

8.3 PBM により QOL 値を測定する場合には、対象者本人が回答することが原則である。

8.3.1 PBM を用いる場合、対象者本人から回答が得られない場合に限り、家族や介護者等による代理の回答を用いてもよい。

8.3.2 PBM を用いる場合、医療関係者による代理回答は、対象者本人の回答と乖離する可能性があるので、推奨しない。

8.4 QOL 値は、「8.2」を満たすものがある限り、国内での調査結果を優先的に使用することを推奨する。

8.4.1 ただし、国内における研究がないあるいは不十分で、海外で質の高い研究がなされている場合は、海外で測定されたものを使用してもよい。

8.4.2 海外で得られた PBM の回答については、日本における換算表を用いて QOL 値を集計するなど「8.2.1」の原則と一致するよう対応する。

8.4.3 個人レベルのデータが利用できず、「8.4.2」が困難でかつ結果に大きな影

響を与える場合は、日本における QOL 値に対応しているか十分な説明を行い、必要に応じて日本における QOL 値に補正するなどを検討する。

8.5 「8.2」に該当するデータが存在しない場合、その他の適切な健康関連 QOL(Health-related quality of life: HRQOL)データから QOL 値へマッピングしたものを使用してもよい。

8.5.1 マッピングを実施する場合は、マッピング関数により得られる QOL 値が「8.2.1」の観点から妥当なものであるかを検討する。

8.5.2 QOL 尺度間に概念上の重なりが乏しいあるいは存在しない場合は、マッピングを実施することの適切性について検討する。

8.5.3 使用するマッピング式の開発過程や性質については、MAPS(MApping onto Preference-based measures reporting Standards)声明のチェックリスト等を利用して詳細な報告が必要である。

8.5.4 詳細な報告ができないマッピング関数を使用することは推奨しない。

8.6 対象者本人から回答を得ることが困難な場合などには、仮想的な健康状態のシナリオを用いて、一般の人々を対象に SG(Standard gamble: 基準的賭け)法や TTO(Time trade-off: 時間得失)法、DCE(Discrete choice experiment: 離散選択実験)法などの手法を用いて測定してもよい(ビニエツ法)。

8.6.1 ビニエツ法で測定された QOL 値は、提示する健康状態のシナリオにより結果が大きな影響を受けることに留意が必要である。

8.6.2 評価に用いる仮想的な健康状態のシナリオについては、患者から直接得られたものではないことから、作成方法やその妥当性を十分に説明する。また、患者や臨床専門家のインプットを受けることが望ましい。

8.6.3 結果を活用する場合は、評価に使用した実際のシナリオを提示すること。

8.6.4 「8.6.1」から費用対効果のデータソースとして過剰な推計とならないよう同一の健康状態においては同一の QOL 値を用いるなどの留意が必要である。

8.6.5 WEB を用いた SG 法と TTO 法の調査については、得られる結果にバイアスが入ることが知られていることから、対面での調査を行うことが望ましい。

8.6.6 ビニエツ法については、国内外の差異について検討が困難である一方で、調査実施が比較的容易であることから、国内データを用いることを推奨する。

8.7 「公的医療・介護の立場」からの分析の場合、実際のデータがあれば、インフォーマルな家族等の介護者や看護者に与える負担を QOL 値への影響についてとして考慮してもよい。

8.7.1 介護・看護負担の軽減により生じる QALY の計算方法について、学術的に確立されたコンセンサスは現時点では存在しないため、問題となる状況に応じて個別に対応する。

8.7.2 ただし、(特に患者の生存期間に差がある際には) 介護者や看護者の生涯にわたる QOL 値を考慮する。

8.8 QOL 値については、測定研究の質が同等である場合、「8.2」の原則に基づき、以下の順序で使用を検討していくことを推奨する。下記があてはまらない場合は、理由を十分に説明すること。

- (A) EQ-5D-5L を用いて国内で収集したもの (「8.2」)
- (B) 日本での換算表が存在する EQ-5D-5L 以外の汎用的(generic)PBM を用いて国内で収集されたもの
- (C) 日本での換算表が存在する疾患・病態特異的(condition specific)PBM を用いて国内で収集されたもの
- (D) 海外で PBM を用いて収集され、個票データが利用可能なもの。尺度の優先順位は(A)-(C)の考え方による。(「8.4」)
- (E) 海外で PBM を用いて収集され、個票データが利用できないもの。(「8.4」)
- (F) マッピングを用いて QOL 値へと変換したもの。変換先の尺度やマッピング式の国内外差の取り扱いについては(A)-(E)に準じる。(「8.5」)
- (G) 日本での換算表が存在しない PBM により収集されたもの
- (H) ビニエツ法を用いて収集したもの (「8.6」)
- (I) その他の手法についてはやむを得ない事情や、学術的な妥当性が示されていない限り、使用を推奨しない。

なお、日本において開発された性質のよいマッピング式などは(F)よりも優先的に使用しう

る可能性がある。

8.9 小児における QOL 値測定については、「8.2」「8.3」「8.8」の原則を現時点では適用しない。特に選好に基づく尺度を用いた場合の「8.3」についての対応は、個別の状況による。

8.9.1 小児における QOL 値測定については、使用した測定方法とその理由を十分に説明する。

9 データソース(費用を除く)

9.1 費用対効果におけるアウトカムや費用の推計を行う際には、想定する当該疾患の治療プロセスについてその根拠とともに示す。

9.1.1 上記の治療プロセスは、日本における標準的なあり方を反映していること。

9.2 費用対効果を推計するにあたって使用する有効性・安全性・QOL 値等のデータ(モデル分析を実施するにあたって使用する推移確率等のパラメータも含める)については原則として、研究の質やエビデンスレベルが高く、かつ日本における現実の臨床成績を反映しているものを優先的に使用する。

9.2.1 有効性・安全性・QOL 値等のデータ選定においては、国内外の臨床研究のSRに基づくことを推奨する。適切なものであれば公開されていない臨床研究や試験の結果等を含めてよい。

9.2.2 原則としてエビデンスレベルの高いデータの使用を優先すべきであるが、研究の質や分析における対象集団、結果の外的妥当性等を勘案して適切なものを使用することを推奨する。(例:RCTの結果が、実際の臨床成績と大きく乖離している可能性があるなど)

9.2.3 適切な場合は、既存の臨床研究やデータベース等を再解析した未公表の結果を活用してもよい。その場合は、患者背景や解析手法等について詳細を明らかにする。

9.3 国内外でデータに明確な異質性が存在する際には、国内データを優先して使用する。

9.4 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。

9.4.1 上記について統計学的な検出力が不足している状況下で、両群で同じ値を用いない場合は、支持するその他のデータや理由、治療効果の大きさ(臨床的に意味のあるものか)などについてあわせて検討を行い、妥当性を説明すること。

9.5 医療機器等の評価において、科学的に信頼できる定量的なデータがある場合は、協議における両者の合意のもとで、上記のデータに基づく分析とは別に、いわゆる習熟効果(経験の蓄積による治療効果等の改善)や製品改良による効果を反映した分析を基本分析とあわせて提出してもよい。

10 費用の算出

10.1 「公的医療の立場」においては公的医療費のみを費用に含める。

10.2 各健康状態の費用は、評価対象技術によって直接影響を受ける関連医療費のみを含め、非関連医療費は含めないことを原則とする。

10.3 各健康状態の費用の推計においては、日本における平均的な使用量や標準的な診療過程等が反映されている必要がある。

10.4 各健康状態の費用の推計において、適切な場合には、「10.3」の観点から実臨床を反映した国内におけるレセプトのデータベースを用いることを推奨する。ただし、レセプト上で健康状態の定義が困難である、評価時点においてデータの十分な蓄積がないなど、推計の実施が困難な場合はその限りではない。

10.4.1 レセプトデータを用いて推計する場合、各健康状態の定義とその根拠を示さなければならない。

10.4.2 費用を推計するために用いた手法(外れ値処理や非関連医療費の除外などを含む)については、用いたものとその根拠を示さなければならない。

10.5 各健康状態の費用の推計において、レセプトデータベースを用いることが困難と判断される場合、あるいはより適切であると判断される場合は、標準的な診療プロセス等に基づき積み上げで算定してもよい。

10.5.1 積み上げで算定する場合は、「10.3」の観点から、その算定根拠について示すこと。関連する資源消費項目と消費量について、レセプト等のデータベースを用いて同定するなどしてもよい。

10.5.2 費用を積み上げで推計する場合は、医療資源消費量と単価を区分して集計、報告することを原則とする。

10.5.3 「10.5.2」の資源消費量の集計において、注射剤のバイアルについては、残量廃棄を原則とする。

10.6 評価対象技術や比較対照技術の費用のみでなく、有害事象や将来の関連する合併症等の費用も含めて推計する。

10.7 公的医療費については、保険者負担分のみならず公費や患者負担分も含めて費用として取り扱う(公的医療費の全額)。

10.7.1 「2.2.2」の原則に応じて、検診やワクチン等の公的医療費に準じる費用も費用として含める。

10.8 単価は可能な限り最新時点の診療報酬点数表や薬価基準等を使用する。特に評価対象技術あるいは比較対照技術については必ず最新時点の価格を用いなければならない。

10.8.1 既存の疾病費用分析やレセプトデータを用いた分析などの場合、単価は医療資源が消費された時点ではなく、分析実施時点にそろえたものを用いる。その際に、診療報酬改定率を乗じる等により調整してもよい。

10.8.2 結果に与える影響が無視できる程度である場合には、分析実施時点に調整しないことも許容する。

10.9 比較対照技術に後発医薬品(バイオシミラーを含む)が存在する場合は、それらの価格を用いた分析もあわせて提出する。

10.10 評価対象技術あるいは比較対照技術の費用が包括支払いの対象となっている場合は、出来高で費用を算出する。

10.11 将来時点に発生する費用も、現時点における医療資源消費や単価に基づき推計したものをを用いる。

10.12 海外データを用いる際には、医療資源消費量について、国内外における医療技術の使用実態等の違いに配慮する必要がある。単価は国内のものを反映させなければならない。

11 公的介護費・生産性損失の取り扱い

11.1「公的医療・介護の立場」では、基本分析に加えて、公的介護費を含める追加的分析を実施することができる。なお、公的介護費は国内の知見に基づき推計されたものを用いる。

11.2 公的介護保険の費用を分析に含める場合は、要介護度・要支援度別に費用を集計することを推奨する。

11.3 要介護度ごとの公的介護保険の利用額は、対象疾患等における実際の資源消費量に基づくことが原則であるが、測定することが困難な場合は平均的な受給者 1 人当たり費用額等を用いてもよい。

11.4 生産性損失を含めた分析を行う場合、基本分析に加えて、追加的分析を実施することができる。ただし、生産性損失を含めることができるかどうかは、疾患の特性等による就業可能性を考慮しなければならない。また、生産性損失は国内の知見に基づき推計されたものを用いる。

11.5 生産性損失の減少は、

(A) 医療技術に直接起因するもの(治療にともなう入院期間の短縮等)

(B) アウトカムの改善(病態の改善や生存期間の延長等)を通じて間接的に生じるものに分けて考えることができる。

生産性損失を分析に含める場合には、原則として(A)のみを費用に含めることとする。

11.6 生産性損失は、人的資本法を用いて推計することを基本とする。これは、当該疾患に罹患していなければ、本来得られたであろう賃金に基づき推計する方法である。

11.6.1 生産性損失を推計する際に単価として用いる賃金は、公平性等を考慮して、最新の「賃金構造基本統計調査」(賃金センサス)に基づき、全産業・全年齢・全性別の平均あるいは全産業・全性別の年齢階級別の平均を用いることとする。

11.6.2 生産性損失を推計するにあたっては、対象となる集団において就業状況を調査し、実際に仕事等に従事できなかった日数や時間を測定する。これに全産業・全年齢・全性別の平均賃金を乗じて生産性損失を推計することが原則である。

11.6.3 「11.6.2」の実施が困難な場合、対象集団において仕事等に從事できないと推計される日数(休日は除く)や時間に全産業・全年齢・全性別の平均賃金を乗じて生産性損失とする。ただし、この方法は 18 歳以上の就業率を 100%と仮定するものであり、生産性損失を過大推計する可能性のあることに留意が必要である。

11.7 家族等による看護や介護のために本人以外の生産性が失われることが明らかな場合は、本人の生産性損失と同じ条件・取り扱いのもとで費用として含めてもよい。

11.8 仕事等の減少とは無関係な時間費用等については含めないこととする。

12 割引

12.1 将来に発生する費用と効果は割引を行って、現在価値に換算しなければならない。

12.1.1 ただし、分析期間が 1 年以下、あるいは短期間でその影響が無視できる程度であるときは、割引を行わなくてもよい。

12.2 費用・効果ともに年率 2%で割引を行うこととする。

12.3 割引率は、感度分析の対象とし、費用・効果を同率で年率 0%から 4%の範囲で変化させる。

13 モデル分析

13.1 「7.」の原則に基づき、予後や将来費用を予測するために決定樹モデル、マルコフモデル等を用いたモデル分析を行ってもよい。

13.2 モデル分析を行う際には、そのモデルの妥当性について示さなければならない。例えば、

(A) 内的妥当性：なぜそのような構造のモデルを構築したのか、病態の自然経過を十分にとらえられているか、使用しているパラメータは適切なものか等

(B) 外的妥当性：既存の臨床データ等と比較して、モデルから得られた推計が適切なものであるか等

13.3 モデルを構築する際に使用した仮定については明確に記述する。

13.4 モデルを構築する際に使用したパラメータとそのデータソースについてはすべて提示する。

13.5 使用したモデルや計算過程については電子ファイルの形式で、第三者の専門家が理解でき、かつ原則としてすべての主要なパラメータ(推移確率、QOL 値、費用)を変更できる形で作成し、提出する。

13.5.1 費用については、その全体額のみでなく、それらの詳細(積み上げの場合は各資源消費量と単価など)を変更できるようにしておくことが望ましい。特に評価対象技術や比較対照技術の単価については、第三者が変更できるようにしなければならない。

13.6 マルコフモデルを用いて解析する場合、1 サイクルあたりの期間が長く、結果に影響を与える場合は、半サイクル補正を実施する。

13.7 マイクロシミュレーションなど確率的に ICER の値が変動し、一意に定まらないモデルを用いる場合は、以下の点について留意する。

(A) 結果の再現性が担保できるように乱数のシード値などを設定する。

(B) 乱数のシード値によって分析結果が大きく変わらないことを説明する。意思決定に使用することが困難であるほどに、試行によって結果のばらつきが大きいモデ

ルは、受け入れられないことがある。

(C) 確率的な変動により ICER の値が変わっても、乱数の生成によってのみ生じる ICER の誤差については、極端な外れ値を用いるなど恣意的に結果が採用されていない限り、論点としない。

(D) 結果のばらつきが大きい場合は、単回の試行結果ではなく、複数回の試行結果の平均値等を用いることを推奨する。

(E) 通常の事務用機器において、1 回の試行に長時間を要するモデルは、レビュー等の実施が困難となるため使用しない。

14 不確実性の取り扱い

14.1 分析の設定等が一意に定まらず、それらの違いが結果に影響を与える可能性がある場合は、複数のシナリオに基づいた分析を行う。

14.2 分析期間が長期にわたり不確実性の大きい状況では、臨床研究のデータが存在する期間を分析期間とするなど、より短期の分析もあわせて行う。

14.3 「5.」において比較対照技術との比較試験が存在しない場合、特に単群試験の結果同士を比較した場合は、不確実性が大きいので十分に広い範囲での感度分析を実施する。

14.4 推定値のばらつきの大きなパラメータ、実際のデータではなく仮定に基づき設定したパラメータ、諸外国のデータで国内のデータと異質性を有する可能性があるパラメータ等については、感度分析の対象とする。

14.5 推定値のばらつきのみが問題となる場合(パラメータの不確実性を取り扱う場合)、感度分析で動かす幅としては、95%信頼区間などを参考に設定する。

14.6 結果に大きな影響を与えるにもかかわらず、不確実性の大きなパラメータについては、基本分析において用いた値の妥当性について十分な説明が必要である。また、その不確実性の結果として、意思決定へ与える影響について検討する。

14.6.1 不確実性の大きなパラメータが意思決定に与える影響について検討する上で、閾値分析が有用な可能性がある。

14.7 確率的感度分析(Probabilistic sensitivity analysis: PSA)もあわせて実施することが望ましい。その場合、使用したパラメータの分布についても明らかにするとともに、費用効果平面上の散布図と費用効果受容曲線(Cost-effectiveness acceptability curve: CEAC)を提示する。

用語集

・ QOL 値

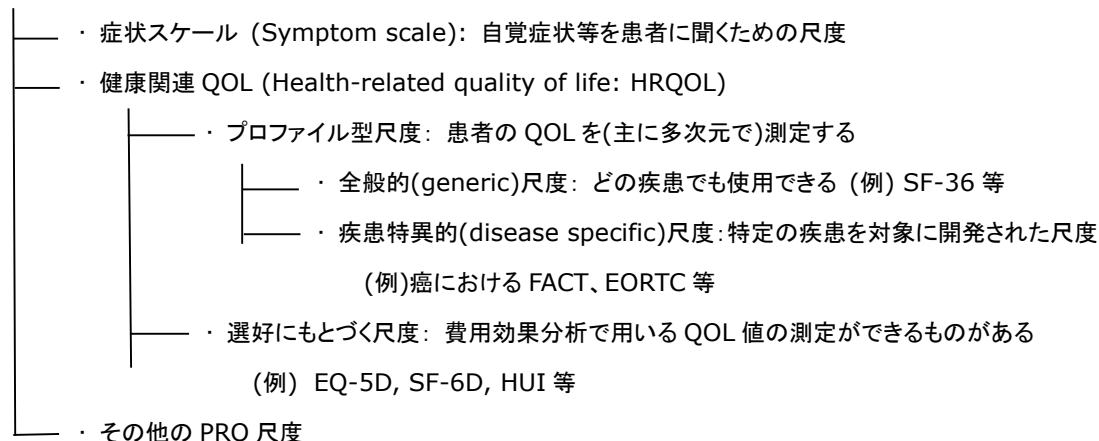
人々の健康状態(から得られる価値)を 0(死亡)から 1(完全な健康状態)に基準化して、一次元で数値化したもの。ただし、「死ぬより悪い」健康状態として負のスコアも取りうる。

QOL 値の測定方法には大別して、仮想的な(あるいは本人の)健康状態に対して、その状態の QOL 値を一般の人々を対象に質問する「直接法」(基準的賭け(SG)法、時間得失(TTO)法など)と、QOL 質問票により得られた回答からスコアリングアルゴリズムを用いて QOL 値を算出する「間接法」が存在する。なお、TTO と SG で測定された値には、系統的な差が存在する可能性があるので留意が必要である。

すべての患者報告アウトカム(Patient-reported outcome: PRO)や QOL 尺度での測定値から費用効果分析で使用される QOL 値が算出できるわけではないことに注意が必要である。費用効果分析で利用できるのは、下記のように QALY を算出するために開発された選好にもとづく(preference-based)尺度で測定したもののみである。

現在のところ、日本でスコアリングアルゴリズムが開発されている尺度としては EQ-5D(EuroQol 5 dimension)、HUI(Health Utilities Index)等がある。

・ 患者報告アウトカム (Patient-reported outcome: PRO)



・ エビデンスレベル

エビデンスレベルには様々な分類法が存在するが、Minds(Medical Information Network Distribution Service)では以下のように定めている。

I	システマティック・レビュー/RCT のメタアナリシス
II	1 つ以上の RCT による

III	非ランダム化比較試験による
IV a	分析疫学的研究（コホート研究）
IV b	分析疫学的研究（症例対照研究、横断研究）
V	記述研究（症例報告やケース・シリーズ）
VI	患者データに基づかない、専門委員会や専門家個人の意見

ただし、RCT のような実験的研究が現実の臨床成績と乖離している可能性はしばしば指摘されている。エビデンスレベルの高いものの使用を原則としつつも、状況に応じた適切なデータを採用する必要がある。

・ 確率的感度分析

確率的感度分析は、モデルのパラメータに分布を当てはめること等により、増分費用や増分効果、ICER の分布を得るための手法である。確率的感度分析の結果は、費用効果平面上に散布図をプロットし、CEAC として $f(\gamma) = Pr(\gamma \cdot IE - IC > 0)$ を書くことが一般的である（IC: 増分費用、IE: 増分効果、 γ : 支払意思額）。

・ 間接比較

例えば臨床試験によって“A vs. B”と“A vs. C”の結果が得られているとき、これらの結果から直接比較のない“B vs. C”の結果を推測することを間接比較(indirect comparison)と呼ぶ。適切な比較対照を用いて分析しようにも直接の比較試験がない場合、間接比較を適用することができる場合がある。

間接比較が成り立つためには“A vs. B”の結果が“A vs. C”の集団にも適応できること、逆に“A vs. C”の結果が“A vs. B”の集団にも適応できることが条件となる。このことを同質性(similarity)の仮定と呼ぶ。間接比較を行うにあたっては、このような仮定に関する検討や、適切な統計手法(例えば、単純な(naïve)間接比較ではなく調整された(adjusted)間接比較)を使用することが必要である。また、ネットワークメタアナリシス(あるいは多群間治療比較(multiple treatment comparison: MTC)とも呼ばれる)のようなより高度な手法を用いた分析についても検討する。

・ 感度分析

不確実性が存在する場合等に、パラメータの値を変化させることにより、結果への影響を見ることが感度分析という。1 つのパラメータを変化させる一次元感度分析、2 つのパラメータを同時に動かす二次元感度分析、複数のパラメータの不確実性を同時に扱う PSA(確率的感度分析の項を参照)などがある。また、閾値を超過するパラメータの値を算出することを閾値分析(threshold analysis)と呼ぶ。

・ システマティックレビュー

システマティックレビュー(SR)とは特定の課題について文献等を網羅的に探索し、可能な限りバイアスなくその結果や評価報告する手法である。Minds によれば『実際の作業面から定義すると、SR とは「臨床的クエスチョンに対して、研究を網羅的に調査し、研究デザインごとに同質の研究をまとめ、バイアスを評価しながら分析・統合を行うこと」』とされる。

しばしば SR とメタアナリシスが混同して使用されることもあるが、SR において得られた結果は必ずしも統計的に統合する必要はなく、このようなものを「定性的システマティックレビュー」と呼ぶこともある。結果を統合することが適切な場合は、SR の結果に基づき、メタアナリシスを実施することとしている。

なお、SR(メタアナリシス)の報告様式としては、国際的に PRISMA (Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses)声明が標準的に使用されている。

・ 質調整生存年

質調整生存年(QALY)は、生存年に QOL 値を乗じることにより得られる。QOL 値が 1 は完全な健康を、0 は死亡を表す。QOL 値 0.6 の健康状態で 2 年間生存した場合、生存年は 2 年だが、 $0.6 \times 2 = 1.2\text{QALY}$ (完全に健康な状態で 1.2 年生存したのと同じ価値)と計算される。時間とともに QOL 値が変化する場合、図のように QOL 値の経時変化をあらわす曲線下面積が獲得できる QALY となる。

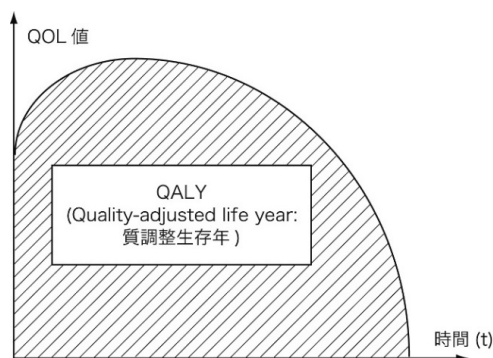


図 QALY の概念図

・ 人的資本法

生産性損失を、本来得られたであろう賃金に基づき推計する方法を人的資本法(human capital method)と呼ぶ。しかし、完全雇用が実現されていない状況下では、その人が働けなくてもかわりの誰かが働くはずであり、長期的には必ずしも生産性が失われるわけではない。そのため、社会における生産性がもとの水準に回復するまでにかかる摩擦費用(friction cost)のみを含めるべきという意見もある。賃金は、疾病により実際に労働できなかった期間を調査すること

により推計すべきであるが、そのような作業が困難な場合は、家事労働を含めたデータが存在しないため就業率を 100%として取り扱ってもよい。また、賃金の単価については、公平性の観点から、実際の単価にかかわらず全産業・全年齢・全性別の平均賃金を用いる。

・ 生産性損失

病気が原因で仕事や家事ができなくなることによる社会的な損失(あるいは早期に回復できることによる社会的な便益)は生産性損失(productivity loss)として、分析の立場によっては費用に含めることができるが、基本分析では含めないこととしている。また、生産性損失の範囲としては、本人のみならず家族等による看護や介護(インフォーマルケア)について検討してもよい。ただし、本ガイドラインでは、効果との二重計上になる恐れがあること等から病態の改善や生存期間の延長などアウトカムの改善を通じた間接的な生産性損失は含めないこととし、入院期間の短縮など医療技術に直接起因するもののみを含めてもよいこととしている。

・ 増分費用効果比

増分費用を増分効果で割ったものを増分費用効果比(ICER)という。以下の式により、治療 B と比較した場合の治療 A の ICER が算出される。

$$ICER = \frac{IC}{IE} = \frac{C_A - C_B}{E_A - E_B}$$

(IC: 増分費用、IE: 増分効果、C_A: 治療 A の期待費用、C_B: 治療 B の期待費用、E_A: 治療 A の期待効果、E_B: 治療 B の期待効果)

効果指標 1 単位獲得するあたり、いくらかかるかを表す指標であり、値が小さいほど費用対効果はよい。

・ 比較技術に対する健康アウトカム指標での改善(追加的有用性)

費用効果分析を実施するにあたっては、増分費用効果比を算出する前に、比較対照技術と比して追加的有用性等を有する比較技術に対する健康アウトカム指標での改善(追加的有用性)があることを示す必要がある。追加的有用性健康アウトカム指標での改善を示す際の効果指標については、必ずしも費用効果分析における効果指標と同一である必要はないが、臨床的に意味のあるものを選択する必要がある。追加的有用性を有する健康アウトカム指標での改善があると判断される場合は、費用効果分析により ICER を算出する。一方で、追加的有用性を有すると健康アウトカム指標での改善があると判断できない場合は、いわゆる CMA により費用の比較を実施する。

・ 非関連医療費

医療費は、評価対象技術によって直接影響を受ける関連医療費(related medical cost)と生命予後の延長等により間接的に影響されるもの、あるいは当該疾患と関連しないもの等の非関連医療費(unrelated medical cost)とに分類できる。例えば、高血圧治療によって心血管疾患や脳卒中が減少すると、期待余命が延長して、非関連医療費(例えば認知症や糖尿病、腎透析など)が増大する可能性がある。このような非関連医療費は原則として費用に含めないこととしている。

・ ビニエツト法

仮想的な健康状態の記述(ビニエツト, vignette)を回答者に読ませて、その健康状態を想起させることにより、QOL 値の評価を行う方法。評価にはいわゆる直説法とも呼ばれる SG 法、TTO 法、DCE 法などが用いられる。記述された健康状態は患者から直接得られたものではない一方で、得られる QOL 値に大きな影響を与えることから、恣意的なシナリオとならないよう慎重な配慮が必要である。

・ 費用効果分析

医療技術の経済評価は下記の 4 パターンに分類されることが多い。(a) アウトカムを同等と置いて費用のみを検討する「費用最小化分析 (Cost-minimization analysis: CMA)」、(b) QALY 以外の種々のアウトカム指標(生存年、イベント回避など)を用いる「費用効果分析 (Cost-effectiveness analysis: CEA)」、(c) QALY を用いる「費用効用分析 (Cost-utility analysis: CUA)」、(d) アウトカムを金銭化して評価する「費用便益分析 (Cost-benefit analysis: CBA)」。

しかし、CMA、CEA、CUA は費用とアウトカムを別々に推計するという点では、同種の分析であるとも考えられるので、本ガイドラインではこれらの手法をまとめて費用効果分析と呼んでいる。

・ 不確実性

費用効果分析を行う上では、様々な分析の不確実性(uncertainty)がともなう。

異質性(heterogeneity)は、広義の不確実性の一種であり、比較対照技術や診療パターン、対象患者等が一意に定まらない状況を指す。これは、次に説明する狭義の不確実性とは異なり、統計学や医療経済学上の技術的な問題ではなく、現実が多様であることに起因する。このような異質性が存在する場合は、複数のシナリオ設定に基づいた感度分析を行うことを推奨している。

狭義の不確実性は、大きく(a)モデルの不確実性と(b)パラメータの不確実性に分けることができる。前者のモデルの不確実性は、さらに(a)-1 方法論上の不確実性や(a)-2 モデルの構造・仮定等に起因するものがある。

(a)-1 方法論上の不確実性は、割引率や生産性損失の推計方法、QOL 値の測定方法等が理論的には一意に定められないために生じる。これら为了避免するためには、標準的な共通の手法に

従って分析を行うことが重要であるが、割引率など結果に大きな影響を与える場合には、一次元感度分析によってその不確実性の大きさを評価する。

(a)-2 モデルの構造・仮定に起因する不確実性は、健康状態や治療プロセスのモデル化法、モデルに組み込むパラメータの選択、観察期間を超えて長期的な予後を予測するための仮定等によって生じる。感度分析等によって評価する。

(b) パラメータの不確実性は、パラメータの推定値が持つ不確実性によって生じる。例えば、ある臨床試験の中で 100 人中 10 人にイベントが起こったとしても、真のイベント発生率(母イベント発生率)は $10/100=0.1$ ではないかもしれない。このような統計的推測に起因する不確実性に対処するには、通常の感度分析に加えて PSA を行うことも有用である。

・ マッピング

選好にもとづく尺度による測定値が存在しない場合、患者報告アウトカム(PRO)での測定結果から、費用効果分析で使用する QOL 値を算出することが有用な場面もある。このような尺度間のスコア変換をマッピング(mapping)と呼ぶ。他のデータが存在しないときなどにマッピングは改善の手法として許容されうるものの、統計学的な妥当性などを十分に検討した上で実施すべきである。

・ メタアナリシス

システマティックレビューで得られた結果を統計的手法によって統合し、統合した値やその信頼区間を求める手法である。異質性が小さい場合は、固定効果モデル、異質性が大きい場合は変量効果モデルやベイズモデルを用いるのが一般的である。結果はフォレストプロットを用いて表記する人が多い。治療間の対比較ではなく、複数の治療の比較を同時に行う場合は、ネットワークメタアナリシスと呼ばれる手法が用いられる(→間接比較)。

・ 優位・劣位

評価対象技術が比較対照技術と比して費用が安く効果も同等以上である場合、その医療技術は「優位(dominant)」であるという。一方、評価技術が対照技術と比較して費用が高いが効果は同等以下である場合、その医療技術は「劣位(dominated)」と呼ばれる。

・ 割引

費用効果分析においては、将来に発生する(あるいは得られる)費用とアウトカムを現在価値に換算するため、一定の率で割引くことが一般的である。年単位で割引を行ったあとの現在価値に換算された費用 C_p は、 i 年後の費用 C_i と割引率 d を用いて

$$C_p = \frac{C_i}{(1+d)^{i-1}}$$

によって計算することができる。効果についても同様である。

【参考】アルツハイマー型認知症治療薬における分析例

- ・ レカネマブ(レケンビ)の費用対効果評価においては「公的医療・介護の立場」での分析が提出された。
- ・ 企業分析・公的分析においては、公的介護保険サービスの費用を介護費用として分析に含めた。公的介護保険で提供されないサービス費用(私費による介護サービス、有料老人ホーム(特定施設入居者生活介護を除く)にかかる費用等)は、分析に含めなかった。

表. レケンビにおける「公的医療・介護の立場」の介護費用に含まれた内容	
介護給付関係	
居宅サービス	訪問介護、訪問入浴介護、訪問看護、訪問リハビリテーションなど
居宅介護支援	居宅介護支援
施設サービス	介護福祉施設サービス、介護保健施設サービス、介護医療院サービス
地域密着型サービス	定期巡回・随時対応型訪問介護看護、夜間対応型訪問介護など
予防給付関係	
介護予防サービス	介護予防訪問入浴介護、介護予防訪問看護、介護予防訪問リハビリテーションなど
介護予防支援	介護予防支援
地域密着型介護予防サービス	介護予防認知症対応型通所介護など

レカネマブ (レケンビ)について費用対効果評価の報告書

<https://c2h.niph.go.jp/results/C2H2308.html>

略語一覧

- ・ CBA: Cost-benefit analysis, 費用便益分析
- ・ CEA: Cost-effectiveness analysis, 費用効果分析
- ・ CEAC: Cost-effectiveness acceptability curve, 費用効果受容曲線
- ・ CMA: Cost-minimization analysis, 費用最小化分析
- ・ CSPBM: Condition specific preference-based measure, 疾患・病態特異的尺度
- ・ CUA: Cost-utility analysis, 費用効用分析
- ・ DCE Discrete choice experiment, 離散選択実験
- ・ EQ-5D: EuroQol 5 dimension
- ・ HRQOL: Health-related quality of life, 健康関連 QOL
- ・ ICER: Incremental cost-effectiveness ratio, 増分費用効果比
- ・ MAIC: Matching-adjusted indirect comparison, マッチング調整された間接比較
- ・ MTC: Multiple treatment comparison, 多群間治療比較
- ・ PBM: Preference-based measure, 選好に基づく尺度
- ・ PRO: Patient-reported outcome, 患者報告アウトカム
- ・ PRISMA: Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses
- ・ PSA: Probabilistic sensitivity analysis, 確率的感度分析
- ・ QALY: Quality-adjusted life year, 質調整生存年
- ・ RCT: Randomized controlled trial, ランダム化比較試験
- ・ RQ: Research question, リサーチクエスション
- ・ SG: Standard gamble, 基準的賭け法
- ・ SR: Systematic review, システマティックレビュー
- ・ TTO: Time trade-off, 時間得失法

令和 8 年度費用対効果評価制度改革の骨子

第 1 基本的な考え方

- 1 2019 年の中央社会保険医療協議会での議論を踏まえて、費用対効果評価制度においては、市場規模が大きい、又は著しく単価が高い医薬品・医療機器を評価の対象とし、評価結果は保険償還の可否の判断に用いるのではなく、いったん保険収載した上で価格調整に用いることとしている。2025 年 12 月 1 日現在までに、72 品目が評価の対象となり、53 品目が評価を終了したところである。これまでの実績を踏まえ、制度のあり方及び運用面に関する見直しについて議論を行ってきた。
- 2 今回の改定においては、これまでの実績に基づき中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（以下「本部会」という。）において実施している客観的な検証等を踏まえて、より適切に制度を運用する観点から、制度の透明性・公平性及び更なる活用に資する分析プロセスの見直しや分析体制の充実等に向けた対応を行うこととする。

第 2 具体的内容

1 費用対効果評価制度の検証について

費用対効果評価制度の客観的な検証として、本部会において、これまで費用対効果評価の対象となった品目について、運用状況等を整理し報告したところであり、以下に結果を示す。

（1）費用対効果評価制度導入前後における保険収載の状況

- 制度導入後の新規収載数について、医薬品は 50 品目前後、医療機器は 25 品目前後であった。

（2）費用対効果評価指定品目の市場規模

- 2025 年 9 月 1 日までに費用対効果評価に指定された 67 品目のうち、収載時の予測市場規模（ピーク時）は中央値 156 億円/年であった。

（参考）

- ・ 令和 7 年 9 月 1 日までに費用対効果評価対象品目として指定された 67 品目の、ピーク時の予測市場規模は、中央値 156 億円/年、25 パーセントイル 117 億円/年、75 パーセントイル 249 億円/年。区分は H1 47 品目、H2 8 品目、H3 2 品目、H5 10 品目。

(3) 2025 年 9 月 1 日までに費用対効果評価が終了した結果

- 費用対効果評価が終了した 49 品目のうち、費用対効果評価分析が実施されたものは 39 品目であった。そのうち、公的分析が実施されず企業分析が受け入れられたものが 2 品目、費用対効果評価専門組織の決定に対して製造販売業者から不服申立てがあったものは 20 品目であった。
- 費用対効果評価が終了した 49 品目のうち、価格調整が行われた 38 品目で、価格全体に対する価格調整額の割合は中央値-4.29%であった。

(参考)

- ・費用対効果評価が終了した 49 品目における価格調整額の割合は、中央値-3.07%、25 パーセンタイル-0.46%、75 パーセンタイル-7.09%。費用対効果評価が終了し、価格調整が行われた 38 品目における価格調整額の割合は、中央値-4.29%、25 パーセンタイル-2.58%、75 パーセンタイル-8.07%。

- 価格調整後の価格を用いて改めて ICER を算出した際に、ICER の区分が変化した品目は 1 品目のみであった。
- 比較対照技術と比べて追加的有用性が示されなかった 18 品目のうち、6 品目においては全ての分析対象集団で追加的有用性が示されなかった。

(4) 今後の対応について

- 本部会において一定の検証を実施した。その過程において指摘された、関係業界からの意見等を踏まえ、半年程度の技術的な議論を行う。今後は、令和 8 年 9 月に中医協での検証報告の議論を行い、それを踏まえ、制度の透明性等を確保する観点から、引き続き分析プロセスの見直しを実施していくこととする。

2 分析方法に関する事項について

費用対効果評価分析のプロセス及び価格調整の方法に係る対応については、以下のとおりとする。

(1) 費用対効果評価終了後の品目指定について

- 「費用対効果評価終了後に国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたと判断されたもの」の指定手続において、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織での手続を

不要とし、費用対効果評価専門組織からの品目指定の提案を中央社会保険医療協議会総会で承認することとする。

(2) 比較対照技術のあり方について

- 比較対照技術の設定に係る下記の考え方が明確となるよう、以下のとおり整理する。
 - ① 比較対照技術は、臨床的に幅広く用いられているもののうち、治療効果がより高いものを1つ選定する。
 - ② 一意的に決めることが難しい場合、費用対効果の程度を考慮する観点から相対的に安価なものを選択することもありうるが、他の考慮要素等を踏まえつつ、決定する。

(3) 介護費用の取扱いについて

- 介護費用の分析の取扱いに関しては、レケンビの事例で指摘された技術的・学術的な課題を踏まえ、諸外国での介護保険制度や費用対効果評価への活用状況も参考とし、引き続き研究する。
- 介護費用を含めた分析については、過去の事例を分析ガイドラインにおいて参考とできるようにしつつ、引き続き事例を集積する。
- 費用対効果評価における介護費用の取扱いは、医療保険制度の基本的な考え方に関わる問題であり、価格調整への活用については、引き続き議論する。

(4) 追加的有用性について

- 費用対効果評価における追加的有用性と、薬価算定における「有用性」が混同されることから、明確化を図る観点で、「追加的有用性」を「比較技術に対する健康アウトカム指標での改善」と表現する。

(5) 不確実性を踏まえた対応

- ICERは一定の不確実性があることを前提に、「ICERの区分」として幅を持たせて価格調整率を決定してきたことを踏まえ、費用対効果評価の実施にあたっては、これまで通りICERを用いて評価し、不確実性の検討を含めて総合的評価を行うことを基本とする。
- 利便性、効果の持続性、標準的治療法であること等がICERで十分に評価されているかは、諸外国の状況に関する調査を踏まえ、引き続き検討する。

(6) リアルワールドデータの活用について

- 費用対効果評価におけるリアルワールドデータの活用の課題について整理検討する。
- リアルワールドデータが得られた場合の取扱いについて、諸外国での活用事例を踏まえつつ、引き続き検討する。

(7) 価格調整の対象範囲のあり方について

価格調整の対象範囲のあり方について、これまでの費用対効果評価の実績と検証等を踏まえ、議論を進めてきた。

- 令和8年度診療報酬改定において、価格引き上げの条件については、以下のように変更することとする。
 - ・ 「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること。」「対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と著しく異なる等一般的な改良の範囲を超えた品目であること。」とあるものを、「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の作用機序を有すること。」「対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と異なり、臨床上有用な新規の機序を有すること。」とする。

(参考) 現行の価格引き上げの条件

薬価算定の基準について（保発 0219 第1号令和7年2月19日）（抄）

別表13 費用対効果評価に基づく価格調整の計算方法

2 価格調整の計算方法

② 価格調整係数（ β ）

ア 対象となる医薬品の費用及び効果が費用対効果評価における比較対照技術（比較対照品目を含む。以下同じ。）より増加し、ICER が算出可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

- i ICER が 200 万円/QALY 未満の品目であって、価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当するもの 1.25

（一）（略）

（二）対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること。

イ 対象となる医薬品の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であり、かつ費用が削減され、ICER が算出不可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

- i 価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当する品目 1.5

（一）（略）

（二）対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること。

特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について（保発 0214 第 3 号令和 6 年 2 月 14 日）（抄）

別表 9 費用対効果評価に基づく価格調整の計算方法

2 価格調整の計算方法

② 価格調整係数（ β ）

ア 対象となる特定保険医療材料の費用及び効果が費用対効果評価における比較対照技術（比較対照品目を含む。以下同じ。）より増加し、ICER が算出可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i ICER が 200 万円/QALY 未満の品目であって、価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当するもの 1.25

（一）（略）

（二）対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と著しく異なる等一般的な改良の範囲を超えた品目であること。

イ 対象となる特定保険医療材料の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であり、かつ費用が削減され、ICER が算出不可能な場合、価格調整係数（ β ）は次に掲げる品目ごとに、それぞれ次に定める係数とする。

i 価格調整時点において、次の（一）及び（二）のいずれにも該当する品目 1.5

（一）（略）

（二）対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と著しく異なる等一般的な改良の範囲を超えた品目であること。

○ 費用対効果を、より活用していく観点から、追加的有用性が示されず、ICER の区分が「費用増加」となった分析対象集団の価格調整について、有用性系加算部分に価格調整係数を乗じる現行の方法ではなく、例えば以下の方法を含め、政策決定の透明性や説明責任を高めるよう、検証を踏まえつつ、見直しを図る。ただし、令和 8 年 4 月以降に評価結果が中医協に報告された品目については、例外的に施行を保留とし、令和 8 年 9 月に中医協での検証報告の議論が終わった後、具体的な方法の詳細について定めた上で、価格調整を実施することとする。

・ 価格調整の方法について

比較対照技術の 1 日薬価（評価対象技術が医療機器の場合は、治療期間における 1 日あたりの医療機器の費用。以下同じ。）を評価対象技術の 1 日薬価で除して得た比を、評価対象技術の価格調整前の価格に乘じた額を価格調整後の価格とする。

- ・ 調整後の価格の下限について
価格調整後の価格の下限は、価格全体の 85%（調整額が価格全体の 15%）とすることを基本に、引き続き議論する。

（８）配慮が必要な対象について

- 配慮が必要な対象について、具体的にどのような疾患や病態に対して配慮を行っているか、諸外国の事例を踏まえながら、引き続き議論していくこととする。

（９）医療機器の特性に応じた対応について

- 医療機器に関する費用対効果評価について、諸外国の費用対効果評価の取扱い等を参考に、引き続き議論していくこととする。

（１０）費用対効果評価の結果の活用について

- 費用対効果評価を終えた医薬品、医療機器等の評価結果をより活用する観点から、厚生労働省及び国立保健医療科学院において、関係学会や関係機関に対して必要な情報提供を行うとともに、各学会における診療ガイドラインへの経済性評価の反映や診療現場での普及を促進する。

3 分析体制の充実に関する事項について

現在は、２大学（立命館大学及び慶應義塾大学）が公的分析班として分析を担当しているが、今後も対象品目の増加が予想される中で公的分析に係る体制の充実が課題となっている。

- 公的分析結果の学術的な取扱いについては、国立保健医療科学院において、報告書としてホームページに公開されている分析結果を論文形式で公的刊行物等に掲載しており、引き続き、こうした取組の進捗状況を確認する。
- 厚生労働省において、引き続き、関係学会等に対する費用対効果評価制度の周知や人材育成並びに分析体制への支援を行い、公的分析班に携わる人材の確保及び組織の充実を行う。
- 海外の評価実施機関における実務経験や研究機会を通じて、国際的に標準となっている知見をより早期に取り入れるための支援を行うことを検討する。

産情発 0214 第 3 号
保 発 0214 第 5 号
令和 6 年 2 月 14 日

地方厚生（支）局長 }
都道府県知事 } 殿

厚生労働省大臣官房医薬産業振興・医療情報審議官
（ 公 印 省 略 ）

厚生労働省保険局長
（ 公 印 省 略 ）

医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に 関する取扱いについて

標記については、これまで「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」（令和 4 年 2 月 9 日医政発 0209 第 5 号、保発 0209 第 6 号。以下「旧通知」という。）により取り扱ってきたところであるが、中央社会保険医療協議会において、別添のとおり「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」が改正され、医薬品及び再生医療品等製品については令和 6 年 4 月 1 日以降、医療機器については令和 6 年 6 月 1 日以降これによることとしたので、その取扱いに遺漏のないよう、貴管下の保険医療機関、審査支払機関等に対して周知徹底を図られたく通知する。

なお、旧通知は、令和 6 年 3 月 31 日をもって廃止する。ただし、令和 6 年 5 月 31 日以前に指定された医療機器の品目については、なお従前の例によることができる。

(別添)

医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて

〔 令和 6 年 2 月 1 4 日
中央社会保険医療協議会了解 〕

1 対象品目の指定

(1) 対象品目の指定基準

医薬品、医療機器及び再生医療等製品については、次のいずれにも該当する品目を、中央社会保険医療協議会総会において、費用対効果評価の対象として指定する。

① 次のいずれかの区分に該当すること。

ア H1区分 平成31年4月1日以降に保険適用された品目のうち、次のいずれかに該当し、かつ、ピーク時予測売上高が100億円以上であるもの

i 類似薬効比較方式（「薬価算定の基準について」（令和6年2月14日保発0214第1号）第1章に定める類似薬効比較方式（Ⅰ）及び類似薬効比較方式（Ⅱ）をいう。以下同じ。）により算定されたもののうち、画期性加算、有用性加算（Ⅰ）若しくは有用性加算（Ⅱ）（以下「有用性系加算（医薬品等）」という。）の対象であるもの又は類似機能区分比較方式（「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」（令和6年2月14日保発0214第3号）第1章に定める類似機能区分比較方式をいう。以下同じ。）により算定されたもののうち、画期性加算、有用性加算若しくは改良加算のハ（以下「有用性系加算（医療機器等）」という。）の対象であるもの

ii 原価計算方式（医薬品及び医薬品の例により取り扱う再生医療等製品（以下「医薬品等」という。）については「薬価算定の基準について」第1章に定める原価計算方式をいい、医療機器及び医療機器の例により取り扱う再生医療等製品（以下「医療機器等」という。）については「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」第1章に定める原価計算方式をいう。以下同じ。）により算定されたもののうち、医薬品等若しくは令和2年4月1日以降に保険適用された医療機器等であって有用性系加算（医薬品等）若しくは有用性系加算（医療機器等）の対象であるもの又は令和2年3月31日以前に保険適用された医療機器等であって営業利益率のプラスの補正の対象であるもの（有用性系加算（医療機器等）に相当する補正が行われた場合に限る。）

iii 原価計算方式により算定されたもの（iiに該当するものを除く。）のうち、開示度（製品総原価に占める薬価算定組織又は保険医療材料等専門組織での開示が可能な額の割合をいう。）が50%未満のもの

イ H2区分 平成31年4月1日以降に保険適用された品目のうち、アのiからiiiまでのいずれかに該当し、かつピーク時予測売上高が50億円以上100億円未満であるもの（以下「評価候補品目」という。）であって、H1区分、H3区分及びH4区分の指定状況並びに当該品目のピーク時予測売上高を勘案し、中央社会保険医療協議会総会において費用対効果評価の対象とすることが適当と認められたもの

ウ H3区分 平成31年4月1日以降に保険適用された品目のうち、アのiからiiiまでのいずれかに該当するものであって、著しく保険償還価格が高いもの、4（1）に規定する分析

枠組み決定より後に効能が追加されたもの又は費用対効果評価終了後に国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたと判断されたものとして、中央社会保険医療協議会総会において費用対効果評価の対象とすることが適当と認められたもの（H1区分又はH2区分に該当するものを除く。）

エ H4区分 平成31年3月31日以前に保険適用された品目のうち、次のいずれかに該当するもの

i アのi若しくはiiに該当するもの又は医薬品等であって営業利益率のプラスの補正の対象であるもののうち、年間販売額（医薬品等にあつては、組成及び投与形態が当該既収載品と同一である全ての類似薬の薬価改定前の年間販売額の合計額をいう。）が1,000億円以上であるもの

ii アのi若しくはiiに該当するもの又は医薬品等であって営業利益率のプラスの補正の対象であるもののうち、著しく保険償還価格が高いもの又は費用対効果評価終了後に国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたと判断されたものとして、中央社会保険医療協議会総会において費用対効果評価の対象とすることが適当と認められたもの

オ H5区分 次のいずれかに該当するもの（H1区分からH4区分までのいずれかに該当するものを除く。）（医薬品等にあつては、平成31年4月1日以降に保険適用された品目に限る。）

i 代表品目（H1区分からH4区分までのいずれかに該当する品目をいう。以下同じ。）を比較薬として保険適用された医薬品等（以下「代表品目類似品」という。）であつて、当該代表品目が収載された日から当該代表品目の費用対効果評価に基づく価格調整後の価格適用日までの期間に保険適用されたもの

ii 代表品目類似品を比較薬として保険適用された医薬品等であつて、当該代表品目が収載された日から当該代表品目の費用対効果評価に基づく価格調整後の価格適用日までの期間に保険適用されたもの

iii 代表品目の費用対効果評価に基づく価格調整後の価格適用日において、当該代表品目と同一機能区分に属する医療機器等

② 次のア又はイのいずれにも該当しないこと。ただし、ア又はイに該当するもののうち、年間販売額が350億円以上の品目又は著しく保険償還価格が高い品目等として、中央社会保険医療協議会総会において費用対効果評価の対象とすることが適当と認められたものについては、①のアからオまでの区分に準ずる区分の対象品目として指定する。

ア 治療方法が十分に存在しない疾病（難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号）第5条第1項に規定する指定難病をいう。以下同じ。）に対する治療のみに用いるもの、血友病の治療に係る血液凝固因子製剤、血液凝固因子抗体迂回活性複合体若しくはこれに類するもの又は抗HIV薬

イ 医薬品等の効能及び効果若しくは当該効能及び効果に係る用法及び用量又は医療機器等の使用目的若しくは効果に、小児（幼児、乳児、新生児及び低出生体重児を含む。以下同じ。）に係るものが明示的に含まれている医薬品等又は医療機器等（以下「小児に係る用法・用量等が承認された医薬品等又は医療機器等」という。）であつて、小児のみに用いるもの

③ 費用対効果評価の対象品目（費用対効果評価の試行的導入の対象品目を含む。）として指定されたことがないこと（費用対効果評価終了後にH3区分又はH4区分に該当した場合を除く。）。)

(2) 対象品目の指定手続

(1) の指定基準を満たすものについて、中央社会保険医療協議会総会において、次の手続により、指定基準の該当性を検討し、対象品目を指定する。

- ① 保険適用時にH1区分、H3区分若しくはH5区分又は評価候補品目の指定基準を満たす可能性のある品目については、「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」（令和6年2月14日産情発0214第2号、保発0214第2号）又は「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」（令和6年2月14日産情発0214第5号、保発0214第4号）に規定する手続により、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織において対象品目案及び評価候補品目案を決定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。中央社会保険医療協議会総会において当該報告内容を審議し、費用対効果評価の対象品目及び評価候補品目を指定する。
- ② H4区分の指定基準を満たす可能性のある品目又は保険適用時に指定基準を満たさない品目のうち、保険適用後に使用方法、適用疾病等の変化により市場拡大したこと、費用対効果評価終了後に、海外評価機関での評価結果等を踏まえた国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたこと等の理由によりH1区分、H3区分、H4区分若しくはH5区分又は評価候補品目の指定基準を満たす可能性のある品目については、「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」又は「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」に規定する手続により、費用対効果評価専門組織において対象品目案及び評価候補品目案を決定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。中央社会保険医療協議会総会において当該報告内容を審議し、費用対効果評価の対象品目及び評価候補品目を指定する。
- ③ 評価候補品目については、中央社会保険医療協議会総会において、費用対効果評価の対象とすることが適当と認められるものを、H2区分の対象品目として指定する。ただし、②の手続により保険適用後に指定された評価候補品目については、中央社会保険医療協議会総会において、年間の評価可能品目数等を踏まえて費用対効果評価の対象とすることが適当と認めるものを、H2区分の対象品目として指定する。

2 製造販売業者による分析

製造販売業者は、1(2)により費用対効果評価の対象として指定された品目について、指定された日の翌日から次の手続により、対象品目の費用対効果を分析する。ただし、H5区分の対象品目については分析せず、代表品目の価格調整に準じて価格調整を行う。

なお、製造販売業者は、分析から5に規定する中央社会保険医療協議会総会の決定までの協議及び手続の内容については、公表しないものとする。また、製造販売業者は、5に規定する中央社会保険医療協議会総会の決定までの間は、分析により得たデータ等について公表しないものとする。

(1) 分析方法等に関する分析前協議

費用対効果評価を効率的に行うため、製造販売業者は分析を開始する前に、次の手続により、国立保健医療科学院と分析方法等に関する協議（以下「分析前協議」という。）を行う。

① 分析前協議の実施体制

分析前協議は、原則として国立保健医療科学院と製造販売業者の2者で行うが、厚生労働省は、必要に応じて分析前協議に参加することができる。また、臨床の専門家等についても両者の合意があれば参加することができる。

国立保健医療科学院は、分析前協議の実施に当たり、その内容を公的分析班（公的かつ中立

的な立場で専門的に費用対効果評価に係る分析を行う機関として国立保健医療科学院が指定する機関をいう。以下同じ。）と協議するものとする。なお、公的分析班は、必要に応じて分析前協議に参加することができる。

② 分析前協議の実施

製造販売業者及び国立保健医療科学院は、分析方法等について協議し、分析対象集団、比較対照技術（比較対照品目を含む。）及び分析に用いる臨床試験等の基本的な方針（以下「分析枠組み」という。）の案を策定する。

また、分析前協議では決定できず、分析中に協議が必要になると想定される事項を、あらかじめ整理する。

③ 関係者への照会

国立保健医療科学院は、必要に応じて、費用対効果評価専門組織の委員のうち臨床の専門家に対し、分析のために必要な事項を照会することができる。

製造販売業者は、必要に応じて、国立保健医療科学院を通じて公的分析班及び費用対効果評価専門組織の委員のうち臨床の専門家に対し、分析のために必要な事項を照会することができる。

④ 分析枠組みの決定

製造販売業者及び国立保健医療科学院は、分析枠組み案、分析前協議及び照会の内容並びに分析中に協議が必要な事項を、原則として品目の指定から3月後に開催される費用対効果評価専門組織へ報告する。費用対効果評価専門組織は、4（1）に規定する手続により、分析枠組み案の科学的妥当性を確認し、分析前協議の内容等を勘案して、分析枠組みを決定する。

この際、製造販売業者は、人員不足等を理由に、分析不能を申し出ることができる。また、製造販売業者は、併せて、分析が困難であることの理由及び公的分析に分析の根拠となるデータが提供できるか否かを報告することとする。費用対効果評価専門組織は、4（1）に規定する手続により、製造販売業者が提供する分析の根拠となるデータをもとに公的分析を行うか否かを決定する。

(2) 製造販売業者による分析

① 分析の実施

製造販売業者は、対象品目について、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第4版」（令和6年1月17日中央社会保険医療協議会総会了承）（以下「ガイドライン」という。）及び分析枠組みに基づき対象品目を分析する。

② 分析中の協議

製造販売業者は、分析開始後に、分析に必要な事項を国立保健医療科学院と協議し、又は国立保健医療科学院を通じて公的分析班及び費用対効果評価専門組織の委員のうち臨床の専門家に対し、分析のために必要な事項を照会することができる。ただし、協議及び照会は、分析開始後に得られた新たな知見を採用するか否かの判断等、科学的な観点から分析に必要な事項に関するものでなければならない。国立保健医療科学院は分析中の協議及び照会の内容を、費用対効果評価専門組織へ報告する。

③ 分析データ等の提出

製造販売業者は、中央社会保険医療協議会総会において対象品目が指定された日から、分析方法、条件及び ICER（対象品目の増分費用効果比をいう。以下同じ。）を含む分析結果のデー

タ（以下「分析データ等」という。）を、原則として 270 日以内に費用対効果評価専門組織及び公的分析に提出しなければならない（4（1）①に規定する手続により、製造販売業者が提供する分析の根拠となるデータをもとに公的分析を行うこととされた場合を除く。）。

製造販売業者は、提出期限までに分析データ等を提出することができなかった場合には、分析データ等を提出する際に、その理由を付さなければならない。費用対効果評価専門組織は、必要に応じて、製造販売業者に対して遅延の理由を確認した上で、当該理由の妥当性を検証し、当該検証結果を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

なお、4（1）①に規定する手続により、製造販売業者が提供する分析の根拠となるデータをもとに公的分析を行うこととされた場合、原則として専門組織の決定後、90 日以内に分析の根拠となるデータを公的分析に提供する。

製造販売業者が公的介護費及び生産性損失について国内のデータを集積し、分析した場合には、当該分析結果を費用対効果評価専門組織に報告することができる。費用対効果評価専門組織は、当該分析結果を費用対効果評価案の策定には用いない。また、当該分析結果について、国立保健医療科学院は、費用対効果評価の方法に関して科学的知見を深め、今後の分析の質を高めるために、必要に応じて、6 に基づき作成する報告書等と併せて公表することができる。

3 公的分析

（1）公的分析の実施体制

国立保健医療科学院は、利益相反の有無や公的分析班が担当している品目数等を考慮した上で、対象品目の分析を担当する公的分析班を指定する。公的分析班は、製造販売業者が提出した分析データ等について、公的かつ中立的な立場から公的分析を行う。国立保健医療科学院は公的分析班の分析を評価した上で、公的分析班とともに公的分析の結果を策定する。

公的分析の中立性を確保するため、対象品目を有する製造販売業者及び製造販売業者の分析と関係のある者は、公的分析班に対する金品その他の便宜の供与を行ってはならない。

国立保健医療科学院及び公的分析班は、公的分析において知ることのできた情報について、秘密を保持し、公的分析以外の目的で利用してはならない。

（2）公的分析の方法

公的分析班は、以下の分析を行うこととする。

- ① 製造販売業者から提出された分析データ等について速やかに科学的妥当性の検証（以下「レビュー」という。）を行う。
- ② レビューの結果、製造販売業者から提出された分析データ等が妥当でないと判断される場合には、再分析（ガイドライン及び分析枠組みに基づき公的分析班が行う分析であって、製造販売業者による分析とは独立したものをいう。以下同じ。）を行う。

なお、公的分析班は、公的分析を行うために製造販売業者に確認が必要な事項については、国立保健医療科学院を通じて製造販売業者に照会することとする。

4（1）①に規定する手続により、製造販売業者が提供する分析の根拠となるデータをもとに公的分析を行うこととされた場合には、ガイドラインに基づき、当該分析を行う。

（3）公的分析結果の提出期限

国立保健医療科学院は、2（2）③に規定する製造販売業者による分析データ等を受理した日

から原則として 90 日以内（公的分析班が再分析を行う場合及び製造販売業者が提供する分析の根拠となるデータをもとに公的分析を行う場合にあっては、180 日以内）に費用対効果評価専門組織に公的分析結果（レビュー及び再分析の結果をいう。以下同じ。）を提出しなければならない。

国立保健医療科学院は、提出期限までに分析データ等を提出することができなかった場合には、分析データ等を提出する際に、その理由を付さなければならない。費用対効果評価専門組織は、当該理由の妥当性を検証し、当該検証結果を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

4 費用対効果評価専門組織の開催

費用対効果評価専門組織は、分析を円滑に実施し、中央社会保険医療協議会総会の審議に資するため、次の（１）から（３）まで及び（５）に掲げる決定等を行う際に開催するものとし、製造販売業者及び国立保健医療科学院から報告を受けた内容について審議する。

（１）分析枠組みの決定

次の手続により、分析前協議で策定された分析枠組み案を審査し、分析枠組みを決定する。

- ① 製造販売業者及び国立保健医療科学院からの報告を踏まえ、次の事項について専門的見地から審査する。

ア 分析前協議の内容及び分析中に協議が必要な事項の内容

イ 分析枠組み案の科学的妥当性

ウ 追加検討の要否及びその方法

エ 薬価算定組織における費用対効果評価の対象となった品目に係る当該品目の有用性加算等を含めた評価等

なお、分析対象集団の規模が小さくなる場合については、患者数や疾患の性質等を勘案しつつ、全体の評価への影響の程度について専門家の意見も伺いながら、その理由を明らかにした上で分析対象集団の一部を分析対象から除外できることとする。ただし、データが開示されない等、製造販売業者の協力が得られず、分析が困難と判断される場合には、該当集団に対する評価は中止する。

また、製造販売業者は、人員不足等を理由に、別紙様式 2 に定める分析不能理由書を用いて分析不能を申し出ることができる。この場合において、費用対効果評価専門組織は、提出された当該理由書の内容を踏まえ、次のとおり決定することができる。

オ 分析不能の理由及びその根拠が不当であるとき、製造販売業者に引き続き分析を行わせることができる。

カ 分析不能の理由及びその根拠が正当かつ、製造販売業者から分析の根拠となるデータを提出する見込みが有りと報告された場合、当該提出データに基づき公的分析を行わせることができる。

キ 分析不能の理由及びその根拠が正当かつ、製造販売業者から分析の根拠となるデータを提出する見込みが無しと報告された場合、評価を中止とすることができる。ただし、当該報告の根拠を踏まえ、製造販売業者が分析の根拠となるデータの提出ができると見込まれる場合においてはこの限りでない。

- ② 製造販売業者のうち希望する者は、費用対効果評価専門組織に出席して、分析枠組み案の内容について定められた時間の範囲内で意見を述べ、費用対効果評価専門組織の委員と質疑応答を行うことができる。また、製造販売業者とともに分析枠組み案の策定に関与した者は、製造販売業者に同行して意見を述べるることができる。

③ 費用対効果評価専門組織は、①及び②を踏まえて分析枠組みを決定し、決定した分析枠組み及びその理由を製造販売業者に通知する。その際、追加検討の必要があると判断される場合にあっては、製造販売業者、国立保健医療科学院及び公的分析班に対して、理由を付した上で追加検討の実施を指示することができる。

④ 通知した分析枠組みに不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式1に定める不服意見書に説明資料を付して、定められた期限までに費用対効果評価専門組織に意見を提出することができる。製造販売業者から提出された不服意見書に新たな論点があること等により、費用対効果評価専門組織が会議の開催の必要性を認めた場合には、費用対効果評価専門組織を開催し、不服意見の聴取を行うことができる。この場合において、不服意見書を提出した製造販売業者は、費用対効果評価専門組織に出席して、定められた時間の範囲内で意見を述べることができる。また、製造販売業者とともに分析枠組み案の策定に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べることができる。

費用対効果評価専門組織は当該不服意見を踏まえ、必要に応じて、分析枠組みを変更することができる。費用対効果評価専門組織は、分析枠組みの変更の有無を製造販売業者に通知する。

製造販売業者による分析及び公的分析は、費用対効果評価専門組織により決定された分析枠組みに基づいて行う。

(2) 製造販売業者の分析データ等及び公的分析のレビューの審査

費用対効果評価専門組織は、次の手続により、製造販売業者から提出された分析データ等及び公的分析のレビューについて審議する。

① 費用対効果評価専門組織は、次の事項について、製造販売業者から提出された分析データ等及び公的分析から提出されたレビューの内容を専門的見地から審査する。その際、追加分析の必要があると判断される場合にあっては、国立保健医療科学院及び公的分析班に対して、理由を付した上で追加分析の実施を指示することができる。

ア 分析中の協議の内容

イ 分析方法の妥当性（分析枠組みに基づく分析方法であることの確認等）

ウ 分析データ等の科学的妥当性

エ 公的分析によるレビューの科学的妥当性

オ 追加分析の要否

カ 報告期限までに分析データ等が報告されなかった場合には、その理由の妥当性

② 製造販売業者のうち希望する者は、費用対効果評価専門組織に出席して、提出した分析データ等について、定められた時間の範囲内で意見を述べ、費用対効果評価専門組織の委員と質疑応答を行うことができる。また、製造販売業者とともに分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べることができる。その後、公的分析のレビュー結果及びレビュー結果に対する費用対効果評価専門組織の委員の質疑応答を聞くことができる。

③ 費用対効果評価専門組織は、審査結果を製造販売業者に通知する。

④ 通知した審査結果に不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式1に定める不服意見書に説明資料を付して、定められた期限までに費用対効果評価専門組織に意見を提出することができる。製造販売業者から提出された不服意見書に新たな論点があること等により、費用対効果評価専門組織が会議の開催の必要性を認めた場合には、費用対効果評価専門組織を開催し、不服意見の聴取を行うことができる。この場合において、不服意見を提出した製造販売業者は、

費用対効果評価専門組織に出席して、定められた時間の範囲内で意見を述べることができる。また、製造販売業者とともに分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べるができる。

費用対効果評価専門組織は当該不服意見を踏まえ、必要に応じて、審査結果を変更することができる。費用対効果評価専門組織は、審査結果の変更の有無を製造販売業者に通知する。

国立保健医療科学院及び公的分析班は、当該審査結果を踏まえて、引き続き再分析及び費用対効果評価専門組織により指示された追加分析を行うものとする。

(3) 費用対効果評価案の策定

費用対効果評価専門組織は、次の手続により、費用対効果評価案を策定する。

- ① 費用対効果評価専門組織は、ICER 等の公的分析結果について、次の事項について専門的見地から審査する。その際、更なる追加分析の必要があると判断される場合にあっては、国立保健医療科学院及び公的分析班に対して、理由を付した上で追加分析の実施を指示することができる。

ア 分析方法の妥当性

イ 公的分析結果の科学的妥当性

ウ 更なる追加分析の要否

エ 報告期限までに公的分析結果が報告されなかった場合には、その理由の妥当性

- ② 対象品目が次のいずれかに該当する場合、価格調整における配慮の要否について総合的な評価（以下「総合的な評価」という。）を行う。なお、公的介護費や生産性損失を含めた分析結果は、費用対効果評価案の策定には用いない。

ア 適用症の一部に治療方法が十分に存在しない疾病が含まれるものであって、当該疾病を分析対象集団として分析を行ったもの

イ 小児に係る用法・用量等が承認された医薬品等又は医療機器等（小児のみに用いるものを除く。）であって、その小児に係る適用症を分析対象集団として分析を行ったもの

ウ 承認された効能又は効果において悪性腫瘍が対象となっており、当該悪性腫瘍を分析対象集団として分析を行ったもの

- ③ 製造販売業者のうち希望する者は、費用対効果評価専門組織に出席して、費用対効果評価案の策定に当たって、定められた時間の範囲内で意見を述べ、費用対効果評価専門組織の委員と質疑応答を行うことができる。また、製造販売業者とともに分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べるができる。

- ④ 費用対効果評価専門組織は、①から③までの手続の結果を踏まえ、対象品目の費用対効果評価案を策定する。

費用対効果評価案には、以下を含むものとする。

ア 分析対象集団

イ 価格調整における配慮の要否に係る総合的な評価

ウ （分析対象集団ごとの）比較対照技術

エ （分析対象集団ごとの）ICER の区分

オ （分析対象集団ごとの）患者割合

なお、ICER の区分とは、ICER の値が、6 の（1）の①から⑧のいずれに該当するかをいう。

- ⑤ 費用対効果評価専門組織は、策定した費用対効果評価案を製造販売業者に通知する。

- ⑥ 通知した費用対効果評価案に不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式1に定める不服意見書に説明資料を付して、定められた期限までに費用対効果評価専門組織に意見を提出することができる。製造販売業者から提出された不服意見書に新たな論点があること等により、費用対効果評価専門組織が会議の開催の必要性を認めた場合には、費用対効果評価専門組織を開催し、不服意見の聴取を行うことができる。この場合において、不服意見書を提出した製造販売業者は、費用対効果評価専門組織に出席して、定められた時間の範囲内で意見を述べることができる。また、製造販売業者とともに分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べることができる。

費用対効果評価専門組織は当該不服意見を踏まえ、必要に応じて、費用対効果評価案を変更することができる。費用対効果評価専門組織は、費用対効果評価案の変更の有無を製造販売業者に通知する。

費用対効果評価専門組織は、策定した費用対効果評価案を中央社会保険医療協議会総会へ報告する。

(4) 公的分析による再分析の必要がないと判断された場合の取扱いについて

(2)において、公的分析による再分析の必要がないと判断された場合には、(3)の②から④までの手続を、(2)の①の手続に加えて実施できることとする。

なお、その際、(3)の④における「①から③までの手続の結果」は、「(2)の①及び②並びに(3)の②及び③の手続の結果」と読み替えることとし、結果の通知は(2)の③に、通知した結果に不服がある場合の取扱いは(2)の④に準ずるものとする。

(5) 分析中断、評価中止及び分析再開に係る決定案の策定

- ① 製造販売業者及び国立保健医療科学院は、4(1)①に規定する手続に加え、分析に必要なデータの不足等により分析が困難（以下「分析不能」という。）となった場合には、対象品目の分析中断を申し出ることができる。

ただし、製造販売業者が分析不能と判断した場合であっても、公的分析が分析可能と判断した場合には、対象品目の分析中断を申し出ることはいできない。この際、分析不能を理由に製造販売業者が分析を行わない場合にあっては、費用対効果評価専門組織は、公的分析結果のみを用いて費用対効果評価案を策定する。

また、対象品目が販売を停止した場合や年間販売額が大幅に減少した場合等であって、製造販売業者及び国立保健医療科学院が合意した場合には、製造販売業者及び国立保健医療科学院は、対象品目の評価中止を申し出ることができる。

ただし、4(1)①に規定する手続によって製造販売業者が提出する分析の根拠となるデータに基づき公的分析を行うこととされた場合においては、公的分析が根拠となるデータが不十分である等の理由により対象品目の評価中止を申し出ることができる。

- ② 費用対効果評価専門組織は、①の申出を受けた場合その他必要があると認める場合には、次の事項について、分析中断又は評価中止の可否を専門的見地から審議する。

ア 製造販売業者又は国立保健医療科学院の申出内容

イ 分析中断又は評価中止とする科学的妥当性

ウ 分析中断の場合、分析再開のために必要なデータ、集積方法及び集積に要する期間

- ③ 製造販売業者のうち希望する者は、費用対効果評価専門組織に出席して、申出の内容について

て定められた時間の範囲内で意見を述べ、費用対効果評価専門組織の委員と質疑応答を行うことができる。また、製造販売業者とともに分析枠組み案の策定又は分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べることができる。

- ④ 費用対効果評価専門組織は、②及び③の手続の結果を踏まえ、分析中断又は評価中止の可否（分析中断とする場合にあっては、データ集積に要する期間を検討した上で、当該期間の決定案及び理由を含む。）を、製造販売業者及び国立保健医療科学院に通知する。なお、②のウについて分析再開のために必要なデータの収集する見込みがない場合にあっては、費用対効果評価専門組織は、その理由及び科学的妥当性について検討し、分析再開が不可能なものとして評価中止の可否に係る決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。なお、評価中止が認められない場合、4（1）①に規定する手続により評価中止となった場合及び4（1）①に規定する手続により製造販売業者が提出する分析の根拠となるデータに基づき公的分析を行うこととされたが（5）①に規定する公的分析の申出により評価中止となった場合においては、「薬価算定の基準について」及び「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」に基づき、対象品目の価格調整を行う。

- ⑤ 通知した決定案に不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式1に定める不服意見書に説明資料を付して、定められた期限までに費用対効果評価専門組織に意見を提出することができる。不服意見書を提出した製造販売業者は、費用対効果評価専門組織に出席して、定められた時間の範囲内で意見を述べることができる。また、製造販売業者とともに分析枠組み案の策定及び分析データ等の作成に関係した者は、製造販売業者に同行して意見を述べることができる。

費用対効果評価専門組織は当該不服意見を踏まえ、必要に応じて、決定案を変更することができる。費用対効果評価専門組織は、決定案の変更の有無を製造販売業者に通知する。

費用対効果評価専門組織は、分析中断又は評価中止に関する決定案を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

- ⑥ 中央社会保険医療協議会総会において分析中断とされた品目について、製造販売業者は定められた期間内にデータを集積する。製造販売業者は、集積したデータに基づいて、次に掲げる区分に応じ、それぞれ次に掲げる事項を費用対効果評価専門組織に報告する。

ア 分析再開が可能なもの

定められた期間内に必要なデータが集積され、分析の再開が見込まれる場合、製造販売業者は、集積したデータを費用対効果評価専門組織に報告する。費用対効果評価専門組織は、②から⑤までの手続に準じて、分析再開の可否に係る決定案及び分析に必要な期間を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。

中央社会保険医療協議会総会において分析再開が決定された場合、分析再開が決定された日の翌日から、2から4までの手続により、対象品目の分析を行う。

イ 分析再開が不可能なもの

定められた期間内に必要なデータが集積されず、分析の再開が見込まれない場合、製造販売業者は、費用対効果評価専門組織にその旨を報告する。費用対効果評価専門組織は、製造販売業者の報告を踏まえ、②から⑤までの手続に準じて評価中止の可否にかかる決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。なお、評価中止が認められない場合、「薬価算定の基準について」及び「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」に基づき、対象品目の価格調整を行う。

ウ 分析中断期間を延長するもの

定められた期間内に製造販売業者による分析の再開に必要なデータ集積が行われなかったものの、期間の延長により必要なデータ集積が行われ、分析の再開が見込まれる場合、費用対効果評価専門組織において、②から⑤までの手続に準じて期間の延長の要否及びその期間についての決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。

5 中央社会保険医療協議会総会での決定

(1) 費用対効果評価の結果の決定及び価格調整

中央社会保険医療協議会総会は、費用対効果評価専門組織から報告された費用対効果評価案を審議し、費用対効果評価の結果を決定する。

費用対効果評価が決定されたものについては、「薬価算定の基準について」及び「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」に基づき、保険収載に合わせて、対象品目の価格調整を行う。

(2) 分析中断、評価中止及び分析再開の決定

中央社会保険医療協議会総会は、費用対効果評価専門組織から報告された分析中断、評価中止又は分析再開の案を審議し、決定する。

- ① 分析中断とされた品目については、データ集積に必要な期間及び分析再開後の分析に必要な期間を設定するとともに、4 (5) ⑥の手続により、分析再開等について審議する。
- ② 評価中止とされた品目については、価格調整は行わず、評価を終了する。ただし、製造販売業者からの分析不能の申出により評価中止となった場合及び製造販売業者の協力が得られず評価中止となった場合は、「薬価算定の基準について」及び「特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について」に基づき、対象品目の価格調整を行う。
- ③ 分析再開とされた品目については、2 から 4 までの手続により、改めて対象品目の分析を開始する。

6 費用対効果評価結果の公表

(1) 中央社会保険医療協議会総会での公表

費用対効果評価が終了した際には、中央社会保険医療協議会総会において、対象集団ごとの ICER の区分及び患者割合を公表することとする。なお、以下の①又は②に該当するものについて、価格調整による引上げが行われる場合は、その旨を併せて公表する。また、患者割合については、原則として公表可能なものを用いることとし、公表することが困難である場合は、その理由を付すこととする。

- ① ドミナント（比較対照技術に対し効果が増加し、かつ費用が削減されるものをいう。）
- ② 比較対照技術に対し効果が同等であり、かつ費用が削減されるもの
- ③ 200 万円/QALY 未満
- ④ 200 万円/QALY 以上 500 万円/QALY 未満（総合的評価で配慮が必要とされたものについては 200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満）
- ⑤ 500 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満（総合的評価で配慮が必要とされたものについては 750 万円/QALY 以上 1,125 万円/QALY 未満）
- ⑥ 750 万円/QALY 以上 1,000 万円/QALY 未満（総合的評価で配慮が必要とされたものについては

1,125 万円/QALY 以上 1,500 万円/QALY 未満)

- ⑦ 1,000 万円/QALY 以上 (総合的評価で配慮が必要とされたものについては 1,500 万円/QALY 以上)
- ⑧ 比較対照技術に対し効果が同等であり、かつ費用が増加するもの
- ⑨ 比較対照技術に対し効果が同等であり、かつ費用が同等となるもの

(2) 国立保健医療科学院の報告

国立保健医療科学院は公的分析班と連携して、費用対効果評価の方法に関して科学的知見を深め、今後の分析の質を高めるために、分析内容、科学的論点、費用、QALY の値、ICER の値及び患者割合等について、報告書や学術論文等を作成し、これを公表するものとする。報告書等の作成に当たっては、製造販売業者と協議の上、製造販売業者の知的所有権等に配慮するものとする。

不服意見書

品目名

通知された事項及び内容
通知内容に対する意見及びその根拠

上記により通知された内容に対する意見を提出します。

年 月 日

住所(法人にあつては、主たる事務所の所在地)

氏名(法人にあつては、名称及び代表者の氏名)

厚生労働大臣 殿

分析不能理由書

品目名

分析不能の理由及びその根拠

製造販売業者から分析の根拠となるデータの提出見込みの有無及びその根拠

上記により分析不能と申し出た理由を提出します。

年 月 日

住所(法人にあつては、主たる事務所の所在地)

氏名(法人にあつては、名称及び代表者の氏名)

厚生労働大臣 殿