

ゾルゲンスマ点滴静注の費用対効果評価の経緯

経緯

- ゾルゲンスマ点滴静注については、令和2年5月に、中医協総会において費用対効果評価の対象品目としてH3（著しく保険償還価格が高いもの）指定された（※）。
 - ※ 適応である脊髄性筋萎縮症は指定難病であるが、著しく保険償還価格が高いものとして、中医協総会において指定。
- 令和3年10月の費用対効果評価専門組織において、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結果については、一定の科学的妥当性はあるものの、薬事承認時等のデータでは、費用対効果評価における長期有効性に関するデータが不足している（※）ことから、必要なデータ収集を行うこととし、分析を中断とする決定案が策定された。
 - ※ 費用対効果評価において日本のゾルゲンスマ点滴静注の臨床実態を反映したデータが必要であるが、薬事承認時等のデータは、日本での臨床実態を反映した長期有効性に関するデータが不足しており、追加データが必要。
- 令和3年12月の費用対効果評価専門組織において、追加データの収集計画案が策定された（※）。
 - ※ 分析再開には、既存の海外臨床試験と同程度以上の日本人長期データ、症例数の集積が必要と考える。したがって、年間10-20例、5年間のデータを収集するとして、令和8年5月までデータ収集を計画。
- 費用対効果評価専門組織からの報告を踏まえ、令和4年1月の中医協総会において、分析中断が承認された。
- 以降、製造販売業者は、年1回、費用対効果評価専門組織で進捗状況について報告を行ってきた。

専門組織での決定と今後の方針について

専門組織での決定

- データ収集の終了に伴い、令和8年9月25日に費用対効果評価専門組織が開催され、以下のとおり、分析再開に係る決定案が策定された。
 - 当初定めたデータ収集期間を終了した（※）ことから、ゾルゲンスマ点滴静注の費用対効果評価に係る分析を再開する。
 - ※ 令和3年12月の費用対効果評価専門組織で策定された追加データの収集計画案に基づき、長期有効性に関するデータを5年間収集した。
 - 分析枠組みの決定から時間が経過していることに鑑み、分析前協議からの再開とし、企業分析に係る期間については9か月（分析前協議にかかる期間3か月を含む）、公的分析（企業分析のレビュー）に係る期間については3か月とする。

今後の方針（案）

- ゾルゲンスマ点滴静注について、費用対効果専門組織の決定案のとおり、分析を再開してはどうか。

参考資料

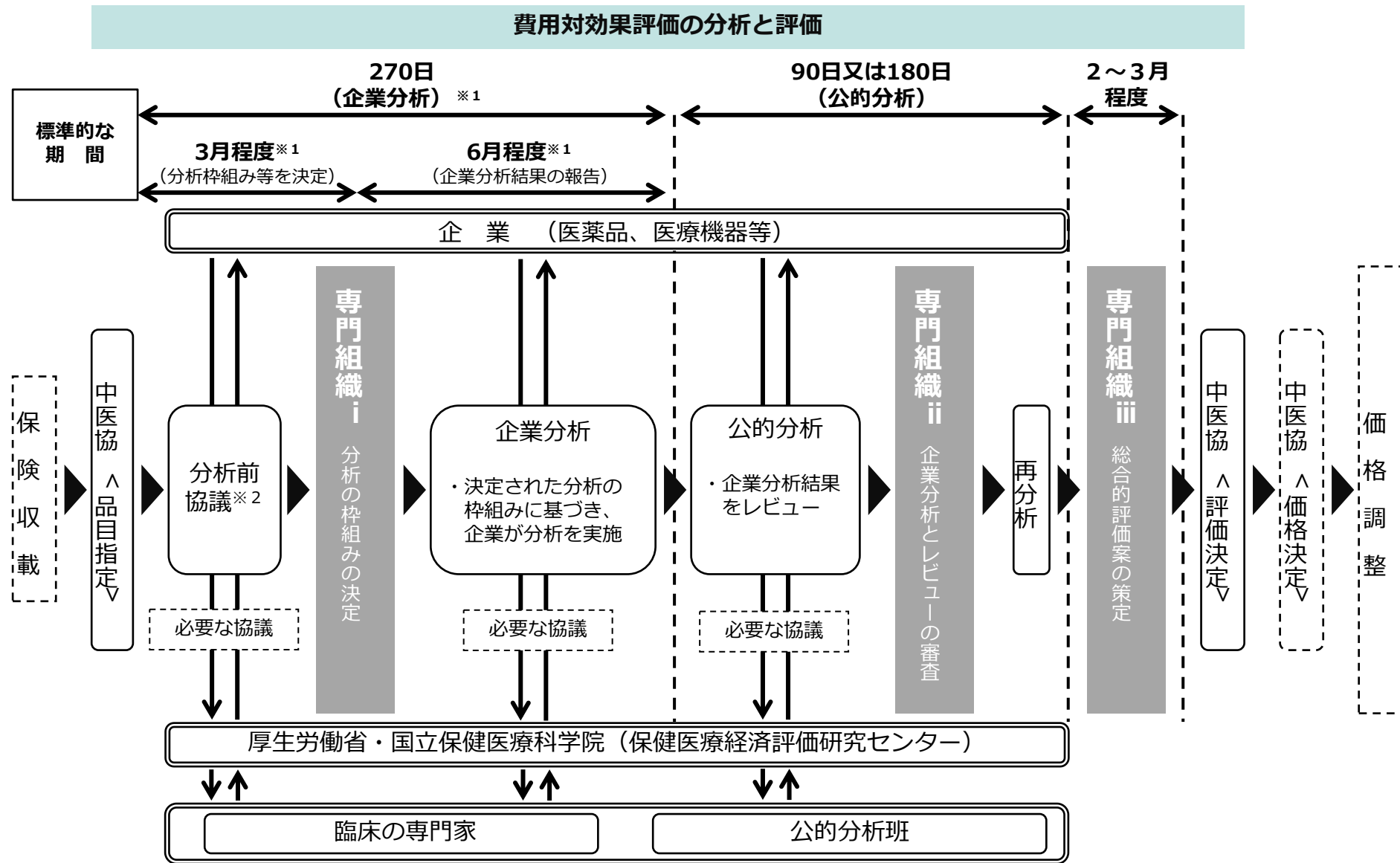
医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて（抜粋）

4 費用対効果評価専門組織の開催

（４）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、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、製造販売業者及び国立保健医療科学院が合意の上、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、国立保健医療科学院が合意しなければ、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つては、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。（後略）。
- 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要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 （略）。
- ④ 費用対効果評価専門組織は、②及び③の手續の結果を踏まえ、分析中断又は評価中止の要否（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。
- ⑤ （前略）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までの手續に準じて、分析再開の要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。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（製造販売業者による分析、公的分析、費用対効果評価専門組織の開催）までの手續により、対象品目の分析を行う。
 - イ～ウ （略）

費用対効果評価の分析・評価の流れ



※1 「分析前協議」と「分析の枠組みに基づく企業分析」の合計の期間は、270日を上回らないこととする。
※2 企業から分析の枠組み案を提出する。提出案に基づく協議し、論点を整理する。協議内容は文書で記録する。