

## 費用対効果評価に関する検討

論点、対応案ならびにこれまでの主な意見

## 1. 概要

- 費用対効果評価については、2012年に中医協費用対効果評価専門部会を創設し、我が国における導入のあり方について検討を行うとともに、2016年からは試行的導入を実施してきた。
- これまでの中医協における検討、試行的導入の経験、有識者の検討結果ならびに関係業界からの意見等を踏まえ、以下の課題につき、中医協費用対効果評価専門部会及び合同部会において論点の整理を行ってきた。

(表1)費用対効果評価に関する検討課題

|   |    |
|---|----|
| (1) 費用対効果評価の活用方法                          | 3  |
| (2) 対象品目の選定基準                             |    |
| ① 費用対効果評価の対象とする品目の範囲、選定基準                 | 4  |
| ② 品目選定のタイミング、公表の手続き                       | 7  |
| ③ 除外基準(稀少疾患や重篤な疾患等への対応について)               | 9  |
| (3)分析のプロセス(企業によるデータ提出、再分析)                |    |
| ① 分析前協議(事前協議)の方法                          | 12 |
| ② 分析実施中の協議                                | 13 |
| ③ 費用対効果評価専門組織の役割、体制等                      | 15 |
| ④ 公的分析の方法や体制                              | 20 |
| ⑤ 分析にかかる標準的な期間の設定                         | 23 |
| ⑥ 分析ガイドラインのあり方                            | 25 |
| ⑦ データが不足している場合等の対応                        | 26 |
| (4)総合的評価                                  |    |
| ① 科学的な観点からの検証方法                           | 28 |
| ② 配慮を行う品目(稀少疾患や重篤な疾患等への対応について)            | 30 |
| ③ 評価結果のとりまとめ方、報告、公表の仕方                    | 32 |
| (5)価格調整                                   |    |
| ① 価格調整の対象範囲                               | 34 |
| ② ICERに応じた価格調整方法                          | 37 |
| ③ 価格調整にかかる基準値の設定                          | 41 |
| ④ 総合的評価において配慮が必要とされた品目の価格調整方法             | 43 |
| ⑤ 価格調整率                                   | 46 |
| ⑥ 比較対照技術に対して費用が削減される品目(ICERが算出不能な品目)等への対応 | 49 |
| ⑦ 価格調整のタイミング、手続き                          | 51 |
| (6) 費用対効果評価にかかる体制の強化                      | 52 |

### (※)主な検討の経緯

- ・合同部会 (2018年6月13日、10月17日、11月7日、11月21日、12月5日)
- ・費用対効果評価専門部会 (2018年8月22日)

### (※)中医協における関係業界からのヒアリング

- ・2018年12月19日

## 2. 各検討課題に関する論点

### (1) 費用対効果評価の活用方法

#### <論点>

- 費用対効果評価の活用方法について、これまでの保険給付の考え方等の観点も含め、どう考えるか。

#### <対応案>

- 費用対効果評価の結果は、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、価格の調整に用いる。
- 今後の実施状況を踏まえ、費用対効果評価に係る組織体制の強化や、課題を整理した上で、活用方法についての検討を継続していく。

#### <検討の視点>

- 我が国においては、国民皆保険の下、有効性・安全性が確認された医療であって、必要かつ適切なものは基本的に保険適用することとしている。
- 現在、新医薬品は、承認後、原則として60日以内、遅くとも90日以内に薬価収載する(新医療機器については保険適用希望書提出後5~6ヶ月以内に保険適用区分を決定する)こととしている。
- これまでの費用対効果評価専門部会における議論では、費用対効果評価の結果は、原則として保険償還の可否の判断に用いるのではなく、価格の調整に用いとされている。

#### <中医協における主な意見>

- 我が国では、これまで国民皆保険のもとで、有効性・安全性が確認された医療であって必要かつ適切なものは保険適応することを基本に対応している。こうした基本原則を変えることは国民の理解を得ることができるかというのは大きな課題であり、疑問。
- 基本原則を堅持しつつ、効能・効果などの状況変化に迅速に対応するとともに、費用対効果評価の本格実施などによって、適切な価格設定を行う努力を重ねていくことが適当。
- 現状では評価に相応の期間を要することが想定され、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグが生じる可能性も勘案すると、今回の本格導入時点においては、保険償還の可否の判断に用いることは実効性に乏しい。
- 本格導入の実施状況を踏まえ、費用対効果評価に係る組織体制の強化や、課題を整理した上で、活用方法については検討を継続していくことが妥当。

## (2) 対象品目の選定基準

### ① 費用対効果評価の対象とする品目の範囲、選定基準

#### <論点>

- 医療保険財政への影響度等の観点から、対象となる品目の要件をどう設定するか。
- 新規収載品と既収載品について、それぞれどのような要件を設定するか。
- 類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)と原価計算方式の品目について、それぞれどのような要件を設定するか。
- 市場規模が一定程度を超えない場合であっても、著しく高額な品目等についてどう取り扱うか。
- 類似薬等の取り扱いについて、制度の公平性の観点から、どう取り扱うか。

#### <対応案>

- 費用対効果評価の対象とする品目は、医療保険財政への影響度を重視する観点から、革新性が高く、財政影響が大きい医薬品・医療機器を主なものとする。
- 基準については、対象となる品目数や現在の費用対効果評価に係る体制等を踏まえ、以下の通りとする。
- 医薬品と医療機器で共通の選定基準を用いる。

#### (i) 新規収載品(制度化以降に収載された品目)の選定基準

- 以下の要件①、②のいずれにも該当する品目を選定する(表2)。

#### 【要件①】

- ・類似薬効比較方式・類似機能区分比較方式、原価計算方式の品目のうち、有用性系加算(画期性加算、有用性加算、改良加算(ハ)(医療機器)のいずれか)が算定された品目。
- ・原価計算方式の品目のうち、開示度 50%未満の医薬品又は製品総原価の内訳のない医療機器(加算の有無によらない)。

#### 【要件②】

- ・収載時の保険適応希望書に記載されたピーク時市場規模(予測)が 50 億円以上の品目。  
<ピーク時市場規模(予測)に応じて、以下の該当区分を設ける>
  - ・ピーク時市場規模(予測)が 100 億円以上の品目(H1 区分)
  - ・ピーク時市場規模(予測)が 50 億円以上 100 億円未満の品目(H2区分)
- ・著しく単価が高い品目など、中医協総会において必要と判断された品目(H3 区分)<sup>(※)</sup>

- H2 区分とされた品目については、「評価候補品目」として位置づける。H1、H3 及び H4 区分の選定状況を踏まえ、医薬品及び医療機器について、年間の評価可能品目数の上限を目安に、ピーク時市場規模(予測)の高いものから順に費用対効果評価の対象として選定する。

- 保険収載時にピーク時市場規模(予測)が選定の要件に該当しなかった品目であっても、市場規模の拡大により、年間の市場規模が 50 億円を超えた場合は対象とする。その場合、年間の市場規模に応じて H1 又は H2 区分として位置付ける。なお市場規模については、薬価調査・材料価格調査及び NDB により確認を行う。

(※)H3 区分の例

- ・著しく単価が高い品目、すでに費用対効果評価を行った品目のうち、評価終了後に評価に大きな影響を与える知見が得られ、再評価が必要であると認められた品目など、優先的に検証することが必要と中医協総会が判断した品目

(ii)既収載品(制度化以前に収載された品目)の選定基準

- 下記のいずれかに該当する品目を選定する(H4 区分)。
  - ・算定方式によらず、有用性系加算が算定された品目であり、市場規模が1000億円以上の品目
  - ・その他、著しく単価が高い品目など、中医協総会において必要と判断された品目(上記 H3 区分の例に準ずる)
- 既収載品の市場規模については、薬価調査・材料価格調査及び NDB により確認を行う。

(iii)類似品目への対応薬等への対応

- 以下に該当する品目を「類似品目(H5 区分)」として選定する。
  - ・費用対効果評価の対象品目(以下、代表品目)を比較対照として算定された医薬品
  - ・代表品目を比較対照として算定され、代表品目と同一の機能区分に分類されている品目
- 代表品目が費用対効果評価の対象となってから、価格調整されるまでの期間に収載された品目を対象とする。
- 類似品目については、費用対効果評価の分析は行わないこととし、代表品目の評価結果に基づき、代表品目に準じた価格調整を行うこととする。

表2:新規収載品(制度化以降に収載された品目)の対象要件

| 対象要件 1  | 対象要件 2(ピーク時市場規模(予測))   |
|---|--|
| 類似薬効比較方式・類似機能区分比較方式 :加算品目 <sup>※1</sup>                                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>・H1 区分:100 億円以上</li> <li>・H2 区分<sup>※3</sup>:50 億円以上 100 億未満</li> </ul> |
| 原価計算方式 <sup>※2</sup> : 加算品目 <sup>※1</sup> 、開示度 50%未満(医薬品)、製品総原価の内訳のない品目(医療機器) |  |

※1 画期性加算、有用性加算、改良加算(ハ)(医療機器)が算定された品目を対象とする。

※2 原価計算方式では、加算品目又は開示度 50%未満(医薬品)、製品総原価の内訳のない品目(医療機器)のいずれかに該当すれば、対象品目とする。

※3 H2 区分に該当した品目は、「評価候補品目」として選定し、H1、H3 及び H4 区分の選定状況を踏まえ、医薬品及び医療機器について、ピーク時市場規模(予測)の高いものから順に選定する。

<検討の視点>

- 費用対効果評価の対象とする品目については、医療保険財政への影響度を重視する観点から、革新性が高く、財政影響が大きい医薬品・医療機器とすることが考えられる。
- 具体的には、試行的導入と同様に、補正加算のある品目等であって、市場規模の大きな(市場規模が一定程度を超える)品目が主な対象となり得る。
- その際、その基準(市場規模等)については、対象となる品目数や費用対効果評価に係る体制等を勘案しながら検討することが求められる。
- 併せて、費用対効果評価に係る体制の強化に取り組む必要がある。
- 既収載品については、保険収載後に実勢価格に基づく改定や再算定等が行われていることから、当面は新規収載品を中心に費用対効果評価を行うことが考えられる。
- 一方で、既収載品については、効能追加等で市場規模が大きく拡大した品目、市場規模が一定の額以上の品目等について優先的に評価の対象にすることも考えられる。
- また、市場規模が一定程度を超えない場合であっても、著しく高額な品目等については、柔軟な対応ができるようにするなどの検討も必要。
- 試行的導入における類似薬等への対応では、対象品目選定後に保険収載された品目が対象とならなかったことについて、検討が必要。

<中医協における主な意見>

- 保険医療財政への影響度を重視する観点から、革新性が高く、財政影響が大きな品目を対象とすること、また新規収載品を主な対象とすることに賛成。
- あくまでも「市場規模」に着目し、市場規模要件は医薬品、医療機器とで同じとするのがよい。
- 類似薬等については、収載の時期によって不公平な取り扱いとならないよう、代表品目を選んで、並べて取り扱うという方法が望ましい。
- 原価計算方式の品目を優先して対象とすべき。
- 既収載品は効能追加等がされた品目等を優先すべき。
- 市場規模が一定程度を越えない場合であっても、著しく高額な品目等については、中医協の判断で費用対効果評価の対象とできるようにすべき。
- 現行の組織体制で評価を行う場合、年間での対応可能な品目数が限られてくる。人材の育成も含め、費用対効果評価の体制強化に積極的に取り組んでほしい。

(参考1) 新規収載医薬品、医療機器の状況

| ピーク時の市場規模<br>(収載時企業予測)      |      | 30 億円以上<br>50 億未満 |            | 50 億円以上<br>100 億未満 |            | 100 億円以上 |            |
|-----------------------------|------|-------------------|------------|--------------------|------------|----------|------------|
|                             |      | 品目数               | うち<br>加算あり | 品目数                | うち<br>加算あり | 品目数      | うち<br>加算あり |
| 2017 年度<br>(5, 8,11,翌年 3 月) | 医薬品  | 1                 | 0          | 6                  | 0          | 8        | 4          |
|                             | 医療機器 | 2                 | 2          | 0                  | 0          | 0        | 0          |
| 2018 年度<br>(4,5, 8,11,12 月) | 医薬品  | 5                 | 3          | 12                 | 4          | 14       | 4          |
|                             | 医療機器 | 1                 | 1          | 1                  | 1          | 0        | 0          |

## ② 品目選定のタイミング、公表の手続き

### <論点>

- 新規収載品及び既収載品について、どのようなタイミングで選定することが望ましいのか。
- 対象品目の選定について、中立的な立場の者が確認した上で、透明性をもって決定するため、どのような手続きが望ましいか。

### <対応案>

#### (i) 品目選定のタイミング

- 費用対効果評価の対象となる品目については、速やかに選定を行う。
- 分析・評価を円滑に進めるために、同時に多くの品目を選定するのではなく、時期を分散して選定する。
- 具体的な品目選定のタイミングとしては、下記の通りとする
  - ①新規収載品(制度化以降に収載された品目)(H1～H3 区分)
    - ・H1 及び H3 区分に該当する品目については、保険収載を機に選定する(年4回)
    - ・H2 区分に該当する品目については、保険収載を機に「評価候補品目」として選定し、H1、H3 及び H4 区分の選定状況を踏まえ、年間の評価可能品目数の上限を目安に、医薬品及び医療機器について、ピーク時市場規模(予測)の高いものから順に、選定する(年2回)
    - ・保険収載時に対象品目に選定されなかったものであっても、市場規模の拡大等により、選定基準(H1 区分、H2 区分)に該当した品目について、選定する(年4回)
  - ②既収載品(制度化以前に収載された品目)(H4 区分)
    - ・新規収載品の状況を踏まえつつ、優先的に評価が必要な品目を、選定する(年4回)
  - ③類似品目(H5 区分)
    - ・類似品目については、保険収載時に対象品目として選定する(年4回)
- H1、H3 及び H4 区分の品目については、選定後速やかに費用対効果分析を開始する。
- H2 区分の品目については、「評価候補品目」とされた時点ではなく、費用対効果評価の対象として選定されたのちに費用対効果分析を開始する。

#### (ii) 品目選定に係る公表の手続き

- 対象品目の選定に係る公表の手続きについては、
  - ・新規収載品(制度化以降に収載された品目)(H1～H3 区分)及び類似品目(H5 区分)については、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織において、該当基準に該当するかどうかの案を作成し、中医協総会において了承を行う。

- ・制度化以降に収載され、保険収載時に対象品目に選定されなかったものであっても、市場規模の拡大等により、選定基準(H1、H2 区分)に該当した品目は、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織の意見を聞いたうえで、厚生労働省において選定基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承を行う。
- ・既収載品(制度化以前に収載された品目)(H4 区分)、については、薬価算定組織及び保険医療材料等専門組織の意見を聞いたうえで、厚生労働省において選定基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承を行う。

#### <検討の視点>

- 費用対効果評価の対象となる品目については、速やかに選定することのできる仕組みが求められる。
- また、費用対効果評価に係る体制には限りがあることから、分析・評価を円滑に進めるためには、同時に多くの品目を選定するのではなく、時期を分散して選定する方が望ましい。
- こうした状況を踏まえると、
  - ・新規収載品については保険収載を機に選定する(年4回)
  - ・既収載品については新規収載品の状況を踏まえつつ、選定基準を満たす品目から優先的に評価が必要な品目を選定する
 等の対応が考えられる。
- 対象品目の選定については、中医協で定められた選定基準を満たすか否かについて、中立的な立場の者が確認したうえで、透明性をもって決定することが考えられる。
- 新規収載品については、保険収載における一連の手続きの中で、薬価算定組織及び保険医療材料専門組織において、該当基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承するなどの手続きが考えられる。
- 既収載品については、厚生労働省において選定基準に該当するか否かの案を作成し、同じく中医協総会において了承するなどの手続きが考えられる。

#### <中医協における主な意見>

- 費用対効果評価の対象となる品目については、保険収載からその間をあげずに選定するという基本的な考え方に賛成する。
- 新規収載品については、既存の制度と足並みを合わせることで、企業の予見性確保の観点からも、年4回の保険収載を機に評価対象に選定するということがよい。
- 既収載品については、収載時の予測と異なって、適応拡大により対象患者が大幅に拡大する品目や著しく高額な品目等に限定して選定する。
- 品目の選定にあたり、中立的な立場として、中医協で選定することに異論はない。新規、既収載品ともに選定にあたっては恣意的な判断がなされないような明確な選定基準を決め、透明性を担保することが必要。



### ③ 除外基準(稀少疾患や重篤な疾患等への対応について)

#### <論点>

- 対象患者の少ない医薬品等の開発を阻害せず、国民の治療へのアクセスを確保するという観点から、どのような配慮が求められるか。
- 具体的には、費用対効果評価の対象から除外とする品目、総合的評価において配慮する要素をどう設定するか。
- 制度の透明性を確保する観点から、配慮する品目や要素についての具体的な判断基準を設ける必要性についてどう考えるか。

#### <対応案>

- 英国のように費用対効果評価の結果を「償還の可否判断」に用いる場合は、患者アクセスは大きな課題となりうるが、いったん保険収載したうえで価格調整を行うのであれば、患者アクセスの懸念は軽減される。
- 一方、価格調整のみを行う場合であっても、以下の品目では開発阻害やアクセス制限につながる可能性が否定できないため、一定の配慮を行う。
  - ①対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなってしまいう品目
  - ②ICER(QALY)では品目の有する価値を十分に評価出来ない品目
- 制度の透明性を確保する観点から、配慮する品目や要素についての判断基準が必要。
- これらのうち、①に該当するものとして、以下の品目は費用対効果評価の対象から除外する
  - ・治療方法が十分に存在しない稀少な疾患(指定難病、血友病及び HIV 感染症)のみに用いられる品目
  - ・小児のみに用いられる品目(日本における小児用法・用量が承認されている品目に限る)
- 上記に該当する品目であっても、市場規模が大きな品目(350 億円以上)又は単価が高い品目については、中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とすることができる。
- また、適応症の一部に稀少な疾患等が含まれる品目及び②に該当する品目については、費用対効果評価の対象とするが、総合的評価ならびに価格調整において配慮を行う((4)②、(5)④を参照)。

(表3)配慮が必要と考えられる品目と対応(案)

| 品目        | ①対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなって<br>しまう品目  | ② ICER(QALY)では品目の有する<br>価値を十分に評価出来ない品目  |
|-----------|--|---|
| 対象<br>品目  | ・治療方法が十分に存在しない<br>稀少な疾患 <sup>(※1)</sup> のみに用<br>いられる品目<br>・小児 <sup>(※2)</sup> のみに用いられる品目 | ・適応症の一部に、治療<br>方法が十分に存在しない<br>稀少な疾患 <sup>(※1)</sup> や小<br>児疾患 <sup>(※2)</sup> が含まれる場<br>合 |
| 対応<br>(案) | 当該品目を費用対効果評価<br>の対象から除外する <sup>(※4)</sup>  | 評価の対象とするが、総合的評価及び価格調整で配慮を行う<br><sup>(※5)</sup>  |

(※1) 指定難病、血友病及び HIV 感染症を対象

(※2) 日本における小児用法・用量承認が取得されている品目

(※3) 承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合に配慮を行う

(※4) ただし、市場規模の大きな品目(350億円以上)、単価が高い品目等については、中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とする

(※5) 「公的介護費や生産性損失」を含めた分析結果については、国内の知見に基づき行われたものに限り、併せて提出することは可能とする。価格調整には用いないが、提出された分析結果は公表し、事例を集積した上で、今後の仕組みの参考とする。

#### <検討の視点>

- 費用対効果評価にもとづく薬価等の引下げが、企業の開発阻害につながり、結果として患者アクセスが制限されるのではないかと、といった指摘がある。
- 英国のように費用対効果評価の結果を「償還の可否判断」に用いる場合は、有効性、安全性が確保されている医薬品等が保険収載されなくなるおそれがあることから、患者アクセスは大きな課題となりうるが、いったん保険収載したうえで価格調整を行うのであれば、患者アクセスの懸念は軽減される。
- 一方、価格調整のみを行う場合であっても、以下の品目の場合は開発阻害、アクセス制限につながる可能性が否定できないため、一定の配慮が必要。
  - ① 対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなってしまう品目
  - ② ICER(QALY)では品目の有する価値を十分に評価出来ない品目
- これらのうち、試行的導入の方法や諸外国の例を参考とすると、例えば、①については当該品目を費用対効果評価の対象から除外する、②については評価の対象とするが、総合的評価で配慮を行うという方法が考えられる。
- また、制度の透明性を確保する観点から、配慮する品目や要素についての判断基準が必要。

#### <有識者会議の検討>

- 総合的評価で倫理的・社会的要素を考慮するのは、ICERで評価できない要素を評価することが目的。
- 英国などでは、費用対効果評価の結果が最終的に償還の可否につながることが多く、患者アクセスを確保する観点から、これらの要素を考慮することが強く求められる。
- 一方、価格調整のみに用いる場合、各要素を価格に反映させる意味合いについては、諸外国の取組を参考にしながら、慎重な検討が必要。
- 諸外国においては定性的な考慮や、基準値を変化させることで対応している場合が多い。

#### <中医協における主な意見>

- 対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなってしまいう品目、ICER(QALY)では品目の有する価値を十分に評価出来ない品目に対して、何らかの配慮を行うことには賛成。
- 日本では償還の可否には用いず価格調整にのみ用いるということを考慮したうえで、慎重に取り扱うべき。
- どのような品目にいかなる配慮を行うかについては、諸外国の状況や有識者からの意見を参考に検討するのがふさわしい。
- 指定難病だけを除外するような考え方ではなく、もう少し広く対象にして頂きたい。
- 制度の透明性の確保、さらには制度を円滑に運用する観点から、品目の具体的な判断基準は必要。

### (3)分析のプロセス(企業によるデータ提出、再分析)

#### ① 分析前協議(事前協議)の方法

##### <論点>

- 事前協議について、どのような手続きで進めるのが望ましいか。
- 事前協議で決定する事項について、その具体的な内容をどうするか。

##### <対応案>

- 分析前協議については、企業と公的分析班は直接接触しないこととし、国立保健医療科学院が企業や公的分析班と協議をしながら、照会を行うこととする。
- 協議内容については記録し、専門組織に報告、決定する。
- 分析前協議では、対象集団、比較対照技術、分析に用いる臨床試験等の基本的な方針や分析の枠組みを協議する。また、分析前には決定することができず、その後の分析(企業分析、公的分析)を進める中で協議することが必要な事項については、あらかじめ整理を行う。

##### <検討の視点>

- 事前協議により決定される「分析の枠組み」は、それによって品目の分析内容の大枠が決定されるものであり、充実させる必要がある。
- 事前協議の内容については、臨床的に妥当な内容を中立性を確保しながら決定することが必要。そのため、臨床の専門家による確認を行った上で、専門組織で決定するといった手続きが求められる。
- また、事前協議の段階で決定可能な事項と、分析前には決定することができず、その後の分析(企業分析、公的分析)を進める中で協議することが必要な事項については、あらかじめ整理しておく必要がある。たとえば、事前協議の段階では、対象集団、比較対照技術、分析に用いる臨床試験等の基本的な方針を決定することとなるが、分析中に新たに得られた知見への対応など、データ分析を進める中で協議が必要となる事項も存在する(詳細は(4)③ 分析実施中の協議を参照)。

##### <中医協における主な意見>

- 事前協議は最も重要であり、その透明性を確保するためにも、協議結果を専門組織で確認する手続きが必要。
- 中立性を確保する観点から、分析実施中の協議は必要最小限にとどめる必要がある。そのため、事前協議において、想定できる最大限の枠組みの必要事項を整理して、方針を予め決定すべき。

## ② 分析実施中の協議

### <論点>

- 分析開始後の相互の協議の必要性についてどう考えるか。
- 協議を可能とする場合、科学的妥当性や中立性を確保するという観点から、どのようなルールを設けるのが適当か。

### <対応案>

- 分析前協議において、分析の枠組み等について可能な限り決定し、それに基づき分析作業を進めることを原則とするが、分析(企業分析、公的分析)を進める中で必要な事項について、相互に照会することが出来る仕組みとする。
- 協議の内容は、分析実施中に得られた新たな知見を採用するか否かの判断など、分析を行う上で科学的に必要な事項に限定し、相互に照会することができる仕組みとする。
- 中立性を保つため、企業と公的分析班は直接接触しないこととし、協議内容は記録した上で専門組織に報告する。

### <検討の視点>

- 分析前の協議において、分析の枠組み等について可能な限り決定し、それに基づき分析作業を進めるのが原則。
- 一方、試行的導入の経験を踏まえると、より科学的な分析を行うためには、事前協議を充実させるだけでなく、分析の過程において企業側と公的分析側が必要な協議を行うことも必要と考えられる。
- 具体的には、分析を進める中で生じた疑義への対応、分析実施中に得られた新たな知見を採用するか否かの判断など、分析に必要な事項について、相互に照会するなど、一定の協議ができる仕組みが必要ではないか。
- ただし、協議については、いわゆる「交渉」となることを避け、中立性を保つことが求められる。例えば、分析実施中に得られた知見に関する協議など、科学的に必要と考えられる内容に限定すること、企業と公的分析班は直接接触しないこと、協議内容を記録した上で専門組織に報告する等のルールが必要。
- 試行的導入の経験を踏まえると、分析前の協議内容や分析内容について、当該分野の専門家が確認することができる公的な体制が求められる。

<有識者検討会による検討>

- 試行的導入では分析に先立ち一定の事前協議は行われたものの、分析実施中の協議は行われなかった。また、相互の協議の機会が限定されており、そのことが企業分析と再分析の乖離を生む一因となった。
- 事前協議において、分析の枠組み等につき議論を行い、相互の考え方を認識する必要がある。
- 一方で、事前協議の段階で分析方法を全て決めることは困難である。事前協議において決めべき事項を定め、かつ、両方で分析についての見解の違いが生じないように、分析途中においても、必要に応じて協議できるような体制を整備する必要があるのではないか。

<中医協における主な意見>

- 事前協議が交渉になってはならない。協議内容は科学的なものに限定すること、また透明性のある手続きとするルールが必要。
- 中立性を確保する観点から、協議内容については、分析開始後に新たな臨床試験の結果が公表されるなど、予め予見することができなかつた科学的なケースのような限定的な運用にする必要がある。

### ③ 費用対効果評価専門組織の役割、体制等

#### <論点>

- 費用対効果評価の科学的妥当性や中立性を確保するため、分析、評価の過程において専門組織がどのような役割を果たすのが適当か。
- 専門組織の委員構成について、当該組織に求められる役割、中立性、中医協総会との役割分担、臨床の専門家の参画の必要性等の観点から、どうするのが適当か。
- 費用対効果評価における分析や評価の臨床的妥当性について、当該分野の臨床の専門家が確認できる仕組みとして、どのような方法が望ましいか。
- 専門組織の委員に係る利益相反の取扱いについて、どうするのが適当か。
- 専門組織における企業側からの意見や不服意見の聴取について、どのような方法で行うのが適当か。

#### <対応案>

##### (i) 専門組織の関わりについて

- 費用対効果評価に係る一連の手続きの中で、「中医協総会」と「専門組織」が役割分担を行う。
- 具体的には、医療関係者(診療側)や保険者(支払い側)の立場からの検討は中医協総会において行い、専門組織では、中立的な立場から専門的な検討を行う。
- 費用対効果評価の科学的妥当性や中立性を確保するため、専門組織は以下の3つの段階で関与を行う。
  - (ア)分析前協議の内容の確認、分析の枠組み等の決定
  - (イ)企業分析の内容の確認(決定された分析の枠組みに基づいて分析が行われているか等)
  - (ウ)企業分析ならびに公的分析の結果に基づく総合的評価
- また、専門組織が必要と認めた場合は、当該分野の専門家が個別の論点等について詳細な検討が出来る仕組みとする。

##### (ii) 専門組織の構成について

- 専門組織は、分析結果の評価等を専門的な立場から行うため、医療経済、臨床、医療統計及び医療倫理の専門家から構成する。
- また、薬価算定組織や保険医療材料等専門組織と同様に、あらかじめ各分野の臨床の専門家を指名した上で、品目に応じて当該分野の専門家が分析前の協議内容や分析内容の確認等を行うことができる体制とする。
- 以上を踏まえ、委員構成は表4～6の通りとする。

##### (iii) 会議の実施方法について

- 専門組織では具体的な品目に関する議論を行うことから、非公開で行う。

(iv)利益相反について

- 専門組織の委員には中立性が求められるため、対象企業及び競合企業との利益相反について確認を行う。

(v)企業からの意見聴取等について

- 希望する企業は、専門組織において直接の意見表明及び相互に必要な質疑応答を行うことができる。
- また、策定された評価結果(案)について不服がある企業は不服意見書を提出するとともに、専門組織において直接の不服意見表明を行うことができる。



(表4)費用対効果評価専門組織の委員とその役割(案)

|         | 委員          | 役割   |
|---------|-------------|--|
| 本委員     | ・医療経済の専門家   | ・費用対効果評価の分析の中身の検証や ICER の評価を医療経済学的な見地から詳細に検討・判断を行う |
|         | ・臨床の専門家     | ・幅広い知識を有する者が、分析・評価の妥当性を総合的に確認する                    |
|         | ・医療統計の専門家   | ・システマティックレビュー等の科学的妥当性を検討する                         |
|         | ・医療倫理の専門家   | ・総合的評価を行う上で、倫理的な観点での検討を行う                          |
| 分野毎の専門家 | ・分野毎の臨床の専門家 | ・各分野の臨床の専門家が品目に応じて参加し、分析・評価の妥当性を確認する               |

(表5)薬価算定組織・保険医療材料等専門組織との比較

|                | 費用対効果評価専門組織(案)   | 薬価算定組織  | 保険医療材料等専門組織                                  |
|----------------|--|---|--|
| 本委員            | ・医療経済の専門家 4名程度<br>・臨床の専門家 2名程度<br>・医療統計の専門家 2名程度<br>・医療倫理の専門家 1名程度 | ・医師 7名<br>・歯科医師 1名<br>・薬剤師 2名<br>・医療経済学者 1名   | ・医師 12名<br>・歯科医師 2名<br>・医療経済学者 1名            |
| 分野毎の専門家<br>(※) | 分野毎の臨床の専門家を予め指名<br>(30名程度)   | ・医師 27名<br>・歯科医師 1名<br>・薬剤師 10名<br>・医療経済学者 4名 | ・医師 22名<br>・歯科医師 1名<br>・薬剤師 5名<br>・医療経済学者 3名 |

(※)薬価算定組織、保険医療材料等専門組織では、保険医療専門審査員として予め委嘱している。

(表6)中医協、専門組織の委員構成

|         | 中医協総会                                       | 中医協<br>費用対効果評価専門部会                                 | 費用対効果評価<br>専門組織(案) <sup>(※)</sup>               |
|---------|---|--|---|
| 構成<br>員 | ・支払い側 7名<br>・診療側 7名<br>・公益側 6名<br>・専門委員 10名 | ・支払い側6名<br>・診療側6名<br>・公益側4名<br>・専門委員 4名<br>・参考人 2名 | ・医療経済の専門家<br>・臨床の専門家<br>・医療統計の専門家<br>・医療倫理の専門家  |
| 会議      | 公開  | 公開   | 非公開   |
| 役割      | ・費用対効果評価の仕組み(ルール)を決定<br>・対象品目の選定、価格調整を決定    | ・費用対効果評価の仕組み(ルール)を検討                               | ・事前協議の内容を確認し、分析の枠組みを決定<br>・企業分析の内容を確認<br>・総合的評価 |

(※)各分野の臨床の専門家が品目に応じて参加し、分析・評価の妥当性を確認する。

## <検討の視点>

### (i) 専門組織の関わりについて

- 費用対効果評価の科学的妥当性や中立性を確保するためには、各段階で専門組織が関与することが求められる。
- 例えば、事前協議の内容については、臨床的に妥当な内容を中立性を確保しながら決定することが必要。そのため、臨床の専門家による確認を行った上で、専門組織で決定するといった手続きが求められる。
- 具体的には、専門組織には、以下の3つの役割が考えられるのではないかと。
  - (ア) 事前協議の内容の確認、分析の枠組み等の決定
  - (イ) 企業分析の内容の確認(決定された分析の枠組みに基づいて分析が行われているか等)
  - (ウ) 企業分析ならびに公的分析の結果に基づく総合的評価
- 専門組織において、企業からの意見表明の機会を設けることとしてはどうか。

### (ii) 専門組織の構成について

- 試行的導入の経験を通して、専門組織の委員には費用対効果評価を進める中で、極めて専門的な知識が求められることが明らかとなった。
- 合同部会(11月21日)において、品目の選定や価格調整等は中医協総会で行うとの検討がなされているところ、一連の手続きの中で、「中医協総会」と「専門組織」との役割分担を整理する必要があるのではないかと。
- 具体的には、医療関係者(診療側)や保険者(支払い側)の立場からの検討は中医協総会において行うこととし、専門組織では、薬価専門組織や保険医療材料等専門組織と同様に、中立的な立場から専門的な検討を行うこととしてはどうか。
- また、分析前の協議内容や分析内容について、当該分野の臨床の専門家が確認することができる公的な体制が求められる。具体的には、薬価算定組織や保険医療材料等専門組織と同様に、あらかじめ各分野の専門家を指名した上で、品目に応じて当該分野の専門家が分析内容等の確認を行うという体制が望ましいのではないかと。
- 加えて、ICER(QALY)を用いた評価の特性を鑑み、医療倫理の専門家を委員とすることも必要ではないかと。

### (iii) 会議の実施方法について

- 専門組織においては、具体的な品目に関する議論を行うことから、薬価算定組織、保険医療材料等専門組織と同様に、非公開で行うことが適当と考えられる。

### (iv) 利益相反について

- 専門組織の委員ならびに各分野の臨床の専門家には中立性が求められるため、薬価算定組織や保険医療材料等専門組織と同様に、対象企業との利益相反についての確認が必要。

### (v) 企業からの意見聴取等について

- 試行的導入における取組と同様に、希望する企業は、専門組織において直接の意見表明ができることとしてはどうか。その際、必要な質疑応答を行えることとしてはどうか。
- また、策定された評価結果(案)について不服がある企業は不服意見書を提出するとともに、専門組織において直接の不服意見表明を行うことができることとしてはどうか。

< 中医協における主な意見 >

- 専門組織の委員構成には賛同するが、分析状況について中医協に適宜報告してもらう必要がある。
- 専門組織の委員を公表することについて検討してはどうか。
- 医療倫理の専門家については、中医協の参考委員として意見を聴取するという方法も検討してはどうか。
- 専門組織には臨床の専門家の参画が必要。科学的妥当性がより高まるような仕組みにしてほしい。
- 臨床の専門家については、透明性、中立性を確保する観点から分野毎に複数名を指名しておくことが必要ではないか。
- 中立性、透明性の観点から、公的分析班と専門組織の構成員については本委員の兼務は避けるべき。
- 利益相反に関する確認の方法を決めておく必要がある。

#### ④ 公的分析の方法や体制

##### <論点>

- 企業分析の後に行われる公的な分析について、その役割及び内容をどうするのが適当か。
- 中立的かつ高度な専門性をもって再分析を実施するために、どのような体制とすることが適当か。
- 利益相反への配慮の観点から、どのような取り扱いとするのが適当か。

##### <対応案>

###### (i) 公的分析の方法

- 提出された企業分析の科学的妥当性を検証(レビュー)する。
- その結果、企業分析に課題があり、科学的妥当性に疑義がある等の場合は、新たに独立した分析(再分析)を行う。

###### (ii) 公的分析の実施体制

- 公的分析については、中立的かつ高度な専門性を有する体制によって行う。
- 国立保健医療科学院が公的分析を主導し、各種調整を行う。そのうえで、大学等を公的分析班と位置付けて複数設置し、公的分析を実施。国立保健医療科学院が公的分析班の分析結果について評価、とりまとめ等を行う。
- 大学等の名称は公開とする。
- 各品目をどの公的分析班が対応するかについては、利益相反、担当品目数などを考慮した上で、国立保健医療科学院が指定する。

###### (iii) 利益相反に関する対応

- 各品目をどの公的分析班が対応するかについては、利益相反、担当品目数などを考慮した上で、国立保健医療科学院で指定を行う(再掲)。
- 公的分析の中立性を確保する観点から、各公的分析班がどの品目を担当しているかについては評価が終了するまで非公開とする。また、接触禁止規定を設け、公的分析班は企業と直接接しない体制とする。
- 企業の機密情報等を扱うことから、公的分析班には守秘義務を求める。
- 分析を行うにあたり確認が必要な事項がある場合、国立保健医療科学院が企業や公的分析班と協議をしながら、照会を行うこととする。

## <検討の視点>

### (i) 公的分析の方法

- 事前協議で分析の枠組みを決定した上で、分析開始後も必要に応じて協議を行うことができるのであれば、企業分析と再分析の結果に大きな乖離が生じる可能性は少なくなる。
- こうした状況の下、提出された企業分析の結果の科学的妥当性を検証(レビュー)を実施した結果、企業分析が一定の質を有している場合は、必ずしも独立した再分析を行う必要はない。他方、企業分析に課題があり、科学的妥当性に疑義がある場合などは、新たに独立した分析(再分析)を行うことが求められる。
- このように、企業分析の後に行われる公的な分析の役割は、品目によって異なることが見込まれる。
- 公的に行われる検証(レビュー)及び再分析については、両者を合わせて「公的分析」と呼ぶこととしてはどうか。

### (ii) 公的分析の実施体制

- 公的分析については、中立的かつ高度な専門性を有する体制によって行われる必要がある。
- たとえば英国においては、国立研究機関であるNIHR(National Institute of Health Research)が国内の大学等に公的分析を委託している。一方、フランスにおいては、大学等に委託するのではなく、国立研究機関であるHAS(Haute Autorité de Santé: 高等保健機構)が企業分析の検証を行うなど、国によって公的分析の実施体制やその内容は異なる。
- 今後、対象品目数を増加していくことが求められる中、国立研究機関の人員は限られていること、各大学が対応できる品目数には限界があること、品目ごとに利益相反への配慮が必要であること等を踏まえると、我が国においては、大学等を公的分析班と位置付けて複数設置し、公的分析を実施する体制がふさわしいと考えられる。
- また、諸外国の国立研究機関が果たしている役割を参考に、厚生労働省の機関であり、試行的導入等を通じて費用対効果評価に係る知見が蓄積されている、国立保健医療科学院が公的分析にかかる各種調整を行うのが適当ではないか。
- 各品目をどの公的分析班が対応するかについては、試行的導入での取扱いと同様に、利益相反、担当品目数などを考慮した上で、国立保健医療科学院で指定することとしてはどうか。

### (iii) 利益相反に関する対応

- 各品目をどの公的分析班が対応するかについては、試行的導入での取扱いと同様に、利益相反、担当品目数などを考慮した上で、国立保健医療科学院で指定することとしてはどうか(再掲)。
- 公的分析の中立性を確保する観点からは、各公的分析班がどの品目を担当しているかについては非公開とし、公的分析班と企業は直接接触しない体制とするのが適当ではないか。
- 分析を行うにあたり確認が必要な事項がある場合、その内容は高度な専門的内容が含まれることが想定されるため、公的分析班や企業は、国立保健医療科学院を通じて照会を行うこととしてはどうか。また、厚生労働省も関与することとしてはどうか。

#### <有識者検討会による検討>

- 試行的導入での方法では、企業分析の内容にかかわらず、独立した再分析を行うこととなる。
- 諸外国では、企業から提出された分析を検証(レビュー)する形式が一般的である。
- 企業分析の結果について、まず検証(レビュー)を行い、その内容が妥当と判断される場合は、再分析の必要はないのではないか。
- ただし、企業が提出した分析に科学的な課題がある等の場合は、新たな分析の実施について検討する必要がある。
- 英国では、NIHR(National Institute of Health Research)から委託を受けたアカデミックセンター(ERG:Evidence Review Group)が公的分析を実施している。NIHRとERGとは分析品目数についての契約を結んでおり、契約期間は5年間である。
- ERGの作成した公的分析レポートは、評価委員会により評価が行われている。
- オーストラリアにおいても英国と同様の取組を行っている。
- 試行的導入では、再分析を国内の大学に委託した(単年度契約)。今後、質の高い公的分析を行うためには、優秀な人材確保をはじめとする実施体制の充実が不可欠であり、そのためには公的分析班については、複数年度の契約とすることが望ましい。あわせて、利益相反についても慎重な配慮を行うとともに、分析の質を確保するための取組が求められる。

#### <中医協における主な意見>

- 制度の効率性から、事前協議や分析中の協議を充実させることにより、公的分析をできる限り検証作業とする方が望ましい。ただし、必要に応じて再分析を実施できる体制を整えておくことは必要。
- 公的分析については、国内の限られた複数の大学に委託して実施するのが現実的な対応であろう。
- 利益相反に留意することは非常に重要。
- 企業分析と公的分析による再分析の結果が違った場合には、公的分析の結果を優先することを明確にすべき。その場合、専門組織による総合的評価のタイミングで企業側から不服意見を聴取する機会を設けるといふことでよいのではないか。

## ⑤ 分析にかかる標準的な期間の設定

### <論点>

- 試行的導入及び検証分析の経験踏まえて、企業分析、公的分析、総合的評価等にかかる標準的な期間をどう設定するか。

### <対応案>

- 費用対効果評価を適切に進める上で、事前協議、企業分析及び公的分析等について、その内容に応じて必要な期間の確保を行う。
- 費用対効果評価の結果に基づく価格調整を遅滞なく行うため、各段階での標準的な期間は以下のように設定する。
  - ・企業分析 9ヶ月程度  
(内訳)・分析前協議(分析の枠組み決定まで) 3~6ヶ月程度  
・枠組みに基づく企業分析 3~6ヶ月程度  
(但し、合計の期間は9ヶ月程度を上回らないこととする)
  - ・公的分析 3ヶ月程度(再分析を行う場合は6ヶ月程度)
  - ・総合的評価及び価格決定 3ヶ月程度
- 各品目の進捗状況については定期的に中医協総会に報告する。
- 費用対効果評価に係る分析の知見を有しない小規模な企業の場合など、標準的な期間での分析が困難な場合も想定されることから、標準的な期間を超えた場合はその理由を中医協総会に報告する。

### <検討の視点>

- 費用対効果評価を適切に進める上では、事前協議、企業分析及び公的分析等について、その内容に応じて必要な期間を確保する必要がある。
- 例えば、事前協議において分析の枠組みを決定するためには、当該品目についてのシステムレビューに加えて専門的な検討、協議が必要であるなど、相応の期間を要することが想定される。
- 一方、費用対効果評価の結果に基づく価格調整を遅滞なく行うためには、各段階での標準的な期間を設定することが必要。
- 今後、評価手法の習熟や制度運用の効率化や諸外国の先進事例の分析・導入を進めることで、費用対効果評価の分析に必要な期間を短縮することが望まれるが、当面は試行的導入から得られた経験をもとに標準的な処理期間を設定する。
- そうした観点を踏まえると、たとえば、以下のような標準期間の設定が考えられる。
  - ・企業分析 9ヶ月程度  
(内訳)・事前協議(分析の枠組み決定まで) 6ヶ月程度  
・枠組みに基づく企業分析 3ヶ月程度
  - ・公的分析 3ヶ月程度(再分析を行う場合は6ヶ月)
  - ・総合的評価及び価格決定 3ヶ月程度

＜中医協における主な意見＞

- 期間の設定に関して、おおむね異論はないが、企業分析があまりに長くなることは望ましくない。制度が成熟して過程で必要な期間も短くなっていくと考えられるので、適宜の見直しは必要。



## ⑥ 分析ガイドラインのあり方

### <論点>

- 品目ごとの分析ガイドラインの解釈について、企業側と公的分析側とで共通認識を得るためには、どのような対応が必要か。
- 試行的導入の経験を踏まえ、分析ガイドラインを見直すことについてどう考えるか。

### <対応案>

- 分析の科学的妥当性の確保や品目ごとの公平性の確保の観点から、費用対効果評価に関する分析は、分析ガイドラインに沿って実施する。
- 品目ごとの分析ガイドラインの解釈(用いるデータの範囲等)は、分析前協議等において具体的に協議を行う。
- 試行的導入の経験を踏まえ、分析ガイドラインについて、必要な見直しを行う。
- また、制度化以降においても、必要に応じて適宜見直しを行う。

### <検討の視点>

- 分析の科学的妥当性の確保や品目ごとの公平性の確保の観点から、標準的な分析方法を定めた分析ガイドラインは重要な役割を有している。費用対効果評価に関する分析は、分析ガイドラインに沿って実施されることが求められる。
- 品目ごとの分析ガイドラインの解釈(用いるデータの範囲等)については、分析前協議等において具体的に協議を行うことが必要。
- 現在、試行的導入での経験や中医協での議論を参考として、厚生労働科学研究班において、分析ガイドラインの改定に向けた検討を行っているところ。分析ガイドラインについて、必要な見直しを行うことが求められる。

### <中医協における主な意見>

- 分析前協議の中で企業側との共通認識を持つことが大切であり、ガイドラインの見直しを行うことには同意。ただし、今後も必要に応じて適宜見直しを行っていく必要がある。
- 分析のプロセスを迅速かつ適切に遂行し、科学的妥当性、公平性を確保するためには、分析ガイドラインに従って実施することが重要。
- 本格実施までに、試行的導入の経緯等を参考に、できるだけブラッシュアップすることが重要。
- 策定段階で関係団体からの意見を聴取するのがよいのではないか。

⑦ データが不足している場合等の対応

<論点>

- 分析不能と判断された品目の分析・評価を中止する場合に必要な手続きとは。
- 企業が分析不能とした品目のうち、再分析及び専門組織で分析可能とされた品目への対応はどうするのが適当か。

<対応案>

- データが不足している等の理由で、「分析不能」であることが確認された品目については、専門組織での協議を経た上で、中医協総会において分析・評価を中断することができる。
- 分析・評価が中断された場合、中医協総会は専門組織での検討を踏まえ、品目毎に期間を設定し、企業側に必要なデータの集積及び提出を求める。その上で、必要なデータが得られない場合は、専門組織及び中医協総会での協議を踏まえ、費用対効果評価のわるいものとみなして価格調整を行う。
- 分析の途中に、当該品目が販売停止もしくは当初予定していた市場が大幅に縮小した場合等は、専門組織での協議を経たうえで、中医協総会において分析・評価を中止できる。
- 企業が分析不能とした品目のうち、公的分析班及び専門組織で分析可能と判断された品目については、公的分析の結果を用いて価格調整を行う。
- 分析が中断又は中止とされた事例を集積した上で、今後の仕組みの参考にする。

#### <検討の視点>

- 有効性に関するデータが不足している等の理由で、「分析不能」な品目が存在することが試行的導入を通じて明らかとなった。
- 分析不能であることが企業側及び厚生労働省において確認された品目については、専門組織の了承を得た上で分析・評価を中止することができる等の仕組みが求められる。
- 一方で、分析が可能であるにも関わらず、企業側が「分析不能」と判断する場合もありえる。その主な理由としては
  - (i)分析ガイドラインの解釈が統一されていないために、誤って分析不能とってしまう場合
  - (ii)費用対効果評価(価格調整)を回避するために、分析不能とする場合などが考えられる。
- このうち、(i)を防ぐためには、分析前の事前協議において、ガイドラインの解釈(分析・評価に用いるデータの範囲等)につき協議をすることが効果的と考えられる。
- また、早期に質の高いデータが提出されるような何らかの制度的な工夫を行った上で、企業が分析不能とした品目のうち、再分析及び専門組織で分析可能とされた品目については、再分析の結果を用いて価格調整を行うことが考えられる。
- 今後は、保険収載を視野に医薬品等の開発を進めている企業に対して、分析・評価に必要なデータの内容について周知するなどの取組も検討する必要があるのではないか。
- 併せて、分析が中止とされた事例を集積した上で、今後の仕組みの参考にすることも必要。

#### <有識者検討会による検討>

- 試行的導入では、評価に用いるデータが不足している等の理由により企業分析が「評価不能」とした品目についても再分析を行った。そのうち、再分析の結果も評価不能とされたものと、評価結果が得られたものがあった。
- 分析ガイドラインの解釈について、事前協議等において共通認識を得るよう取り組む必要がある。
- 早期に質の高いデータが提出されるような、何らかの制度的な工夫が必要である。

#### <中医協における主な意見>

- 分析不能と確認された品目については、透明性を確保するためにも中医協に報告する必要がある。
- 企業分析の結果が得られず、再分析の結果のみが得られた場合に再分析の結果を用いて価格調整するのは当然。
- 分析不能のときの分析中止の判断は、どのタイミングで行うのか。事前相談で6ヶ月も時間があるのだから、ある程度そこで判断できるのではないか。
- 分析不能とされた品目についても、その後にデータ得られて分析可能となった場合は、改めて分析前協議から始めればよいのではないか。

## (4)総合的評価

### ① 科学的な観点からの検証方法

#### <論点>

- ICERについては、科学的に妥当な分析が行われることを前提として、幅をもった評価を許容してはどうか。
- 複数の適応疾患を持つことなどにより、複数の ICER が得られる品目の評価方法等について、品目の適切な評価の観点からどうするか。

#### <対応案>

- ICERについては、科学的に妥当な分析が行われることを前提として、分析に適したデータが複数ある場合など、ICER を1点で決めることが困難な場合は、幅をもった評価を許容する。
- 複数の対象集団に分けて分析を行う場合には、対象集団毎に ICER を算出する。
- 複数の対象集団があることにより複数の ICER が得られる品目の場合は、各対象集団における価値を価格に適切に反映させるため、まず算出されたそれぞれの ICER 等に基づき、対象集団毎に価格調整を行ったうえで、それらの重みつき平均を用いて価格調整を行う。

#### <検討の視点>

- ICER はガイドラインに基づいた合理的な分析をもとに算出されるもの。
- 例えば分析に適したデータが複数ある場合など、ICER を1点で決めることが困難な場合もある。そのため、幅をもった評価を許容するという考え方が必要。
- 複数の対象集団等があるなどにより複数の ICER が得られる品目の場合や、その ICER の一部がドミナント等である場合について、試行的導入における経験を踏まえ、各疾患における価値を価格に適切に反映させるための方法を検討する必要がある。

#### <有識者検討会における検討>

- 複数の対象集団等がある場合等に、異なる対象集団に対する ICER の平均値等を算出し、それを代表値とすることについては、学術的な(医療経済学的な)評価が難しいという指摘があり、品目を適切に評価するためにはさらなる検討が必要。
- 複数の ICER を一つに統合するのではなく、適応疾患ごとに ICER に基づき価格を算定し、それらの重みつき平均を用いる方法は、適応疾患ごとに異なる価格がつけられたときの市場平均価格とも解釈でき、さらには各疾患における価値を価格に反映できる。

<中医協における主な意見>

- ICERについては、その数値の性格上、一定の幅を許容するという考え方は理解できる。
- 分析ガイドラインに基づいて科学的な観点で適切なデータを用いて分析をすることを前提とした場合に、一定の幅を許容するという考え方はICERの評価の整理としては妥当。
- 複数のICERが得られる品目については、その価値を適切に価格に反映できる方法が望まれる。有識者による検討内容にある、適応疾患ごとにICERに基づき価格を算定し、それらの重みつき平均を用いる方法が、現時点では有効かと思うが、検討は必要。
- ICERを統合する方法よりも、適応疾患毎のICERに基づいてそれぞれの価格を算定して、それらの加重平均を価格として採用する方法がより論理的妥当性がある。
- ICERに幅を持たせるのであれば、価格調整についても1対1の対応にするのではなく、ある程度幅を持たせたやり方にすべき。

## ② 配慮を行う品目(稀少疾患や重篤な疾患等への対応について)

### <論点>

- 対象患者の少ない医薬品等の開発を阻害せず、国民の治療へのアクセスを確保するという観点から、どのような配慮が求められるか。(再掲)
- 具体的には、費用対効果評価の対象から除外とする品目、総合的評価において配慮する要素をどう設定するか。(再掲)
- 制度の透明性を確保する観点から、配慮する品目や要素についての具体的な判断基準を設ける必要性についてどう考えるか。(再掲)

### <対応案>

- 英国のように費用対効果評価の結果を「償還の可否判断」に用いる場合は、患者アクセスは大きな課題となりうるが、いったん保険収載したうえで価格調整を行うのであれば、患者アクセスの懸念は軽減される。(再掲)
- 一方、価格調整のみを行う場合であっても、以下の品目の場合は開発阻害やアクセス制限につながる可能性が否定できないため、一定の配慮を行う。(再掲)
  - ①対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなってしまう品目
  - ②ICER(QALY)では品目の有する価値を十分に評価出来ない品目
- 制度の透明性を確保する観点から、配慮する品目や要素についての判断基準が必要。(再掲)
- これらのうち以下の品目については、費用対効果評価の対象とするが、総合的評価ならびに価格調整で配慮を行う。
  - ・適応症の一部に、治療方法が十分に存在しない稀少な疾患(指定難病、血友病及び HIV 感染症を対象とする)が含まれる品目
  - ・適応症の一部に、日本における小児用法・用量が承認されている小児疾患が含まれる品目
  - ・抗がん剤(承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合)
- 「公的介護費や生産性喪失」を含めた分析結果については、国内の知見に基づき行われたものに限り、併せて提出することは可能とする。価格調整には用いないが、提出された分析結果は公表し、事例を集積した上で、今後の仕組みの参考とする。
- 総合的評価において配慮が必要とされた品目の価格調整方法については、(5)④を参照。

(表3)配慮が必要と考えられる品目と対応(案) (再掲)

| 品目        | ①対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなって<br>しまう品目  | ② ICER(QALY)では品目の有する<br>価値を十分に評価出来ない品目  |
|-----------|--|---|
| 対象<br>品目  | ・治療方法が十分に存在しない<br>稀少な疾患 <sup>(※1)</sup> のみに用<br>いられる品目<br>・小児 <sup>(※2)</sup> のみに用いられる品目<br>(※2) | ・適応症の一部に、治療<br>方法が十分に存在しない<br>稀少な疾患 <sup>(※1)</sup> や小<br>児疾患 <sup>(※2)</sup> が含まれる場<br>合 |
| 対応<br>(案) | 当該品目を費用対効果評価<br>の対象から除外する <sup>(※4)</sup>  | 評価の対象とするが、総合的評価及び価格調整で配慮を行う<br>(※5)   |

(※1) 指定難病、血友病及び HIV 感染症を対象

(※2) 日本における小児用法・用量承認が取得されている品目

(※3) 承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合に配慮を行う

(※4) ただし、市場規模の大きな品目(350 億円以上)、単価が高い品目等については、中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とする

(※5) 「公的介護費や生産性損失」を含めた分析結果については、国内の知見に基づき行われたものに限り、併せて提出することは可能とする。価格調整には用いないが、提出された分析結果は公表し、事例を集積した上で、今後の仕組みの参考とする。

<検討の視点> (2)－③を参照

<中医協における主な意見> (2)－③を参照

<業界側の主な意見> (2)－③を参照

### ③ 評価結果のとりまとめ方、報告、公表の仕方

#### <論点>

- 評価結果については、基本的には試行的導入と同様のとりまとめ方としてはどうか。
- その詳細については、分析方法や総合的評価及び価格調整方法に関する今後の検討状況を踏まえ、決定してはどうか。
- 試行的導入における取扱いと同様、各品目の主な対象疾患、主な比較対照技術、分析結果等について公表することを基本としてはどうか。
- 加えて、分析の質を高める等のために公開することが望ましい情報とは何か。
- ICERについては、どのような形で情報を公表するのが適当か。

#### <対応案>

- 評価が終了した品目については、分析の枠組み(対象疾患、比較対照技術等)やICERを含む主要な分析結果などを公表する。
- 価格調整にあたり、ICERの値が以下(①～④)のいずれに該当するかを速やかに公表する。対象集団毎に分析が行われた場合には、対象集団毎の結果も併せて公表する。
  - ① 500万円/QALY未満
  - ② 500万以上750万円/QALY未満
  - ③ 750万以上1000万円/QALY未満
  - ④ 1000万円/QALY以上(総合的評価で配慮が必要とされた品目:① 750万円/QALY未満、② 750万以上1000万円/QALY未満、③ 1000万以上1250万円/QALY未満、④ 1250万円/QALY以上)
- また、費用対効果評価の手法に関して科学的議論を深め、今後の分析の質を高めるために、分析内容や議論となった科学的論点、ICERの値などについて、報告書等の形で公表する。

#### <検討の視点>

- 評価結果については、当該品目の価格調整に必要な情報が含まれていることが必要。
- 分析の枠組み(対象疾患、比較対照技術)やICERを含む主要な分析結果などを公表することは、制度の透明性を確保するために重要。
- また、分析の質を高めるためには、前例(すでに行われた分析の内容や、議論となった科学的論点など)を参照できることが効果的と考えられ、そのために必要な項目を公表することも望ましい。
- 一方、公表内容については、個別品目の情報であること、ICERが幅を持って評価される可能性があること等を考慮して検討する必要がある。



#### <有識者検討会における検討>

- 費用対効果評価の分析手法や結果については、透明性確保の観点に加えて、関連業界のみならず国民にとっても意味のある情報であることから、諸外国において公開されていることが多い。
- 分析結果の概要に加えて、専門組織に該当する組織で議論された科学的論点とその結論等については、企業の知的所有権に配慮しつつ、諸外国においてもその概要が一定程度公開されていることが多い。議論の前例が参照できることにより、企業側、再分析側ともに、より整合性の取れた分析が実施可能になると考えられる。
- 我が国においてもこうした観点を踏まえて、結果が公表されることが望ましいと考える。

#### <中医協における主な意見>

- 評価結果の公表は、費用対効果評価の透明性を高めて、精度を上げていくという観点からは大切なことであり、諸外国の例を参考に必要な情報を開示していくことには賛成。
- 主たる比較対照技術、分析方法や価格調整における調整方法、専門組織等で議論された科学的な論拠による考察など、制度の透明性の確保並びに国民の理解につながるようなものを報告、公表していくことが必要。
- 総合的評価や価格調整で何らかの考慮を行った場合は、その根拠を公表すべき。
- 公表にあたっては、企業の知的所有権などへの十分な配慮は当然必要。
- 疾患別の ICER は、全て公表すべき。

## (5) 価格調整

### ① 価格調整の対象範囲

#### <論点>

- 価格調整の範囲について、薬価・材料価格算定ルールを補完する視点から検討することについてどう考えるか。
- 類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)の品目の価格調整範囲をどうするか。
- 原価計算方式の品目の価格調整範囲をどうするか。

#### <対応案>

- 価格調整の範囲については、薬価・材料価格制度を補完する視点からの検討を踏まえ、以下の通りとする。
- 類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)については、有用性系加算部分を価格調整範囲とする。
- 原価計算方式については、
  - ・開示度が50%未満の品目(医薬品)、製品総原価の内訳に関する資料がない品目(医療機器)については、医薬品は営業利益および有用性加算部分、医療機器は営業利益およびその補正部分を価格調整範囲とする。
  - ・開示度が50%以上の品目(医薬品)、製品総原価の内訳に関する資料がある品目(医療機器)については、医薬品は有用性加算部分、医療機器は営業利益率の補正部分を価格調整範囲とする。

#### <検討の視点>

- 現在の薬価・材料価格算定ルールにおいては、既存品目に対する類似性や臨床上的有用性の程度を踏まえ、算定方式、加算の有無・程度を決定するなど、臨床上の価値を中心に品目の価値を判断し、価格を算定している。また、これまで、中医協での議論を経て逐次制度改正を行い、ルールの精緻化が進められてきている。
- 費用対効果評価の価格調整の対象範囲を検討するにあたっては、このように一定の妥当性をもって算定された薬価・材料価格(算定ルール)との整合性をはかる必要がある。<sup>(※)</sup>
  - (※) 例えば、類似薬効比較方式で算定された薬価について、比較薬よりも低い価格とするなどした場合、市場での公正な競争が確保できなくなる
- そのため、費用対効果評価の結果については、薬価・材料価格制度を補完するという観点から活用することを基本とし、それに基づき価格調整の対象範囲を検討してはどうか。

＜中医協における主な意見＞

- 現行の薬価・材料価格算定ルールを補完する観点から検討することについては賛成。
- 類似薬効比較方式の品目は、比較薬があり、ある程度透明性が確保されていることから、試行的導入と同様に補正加算を対象にすることでよいと考える。
- 原価計算方式の品目は、透明性が確保されていないことから、類似薬効比較方式と同様の取り扱いとするのはふさわしくない。製品総原価を含めた製品価格全体で価格調整の対応をしていく。場合によっては営業利益本体と製品総原価の合計値を下回ることも許容されてもよいのではないか。

(図1)薬価、材料価格の算定方式

(平成29年10月4日:中医協 費薬材-1、抜粋、一部改)

○ 薬価算定の概略  
 <類似薬効比較方式>

|                      |                    |
|----------------------|--------------------|
| 比較薬の薬価分<br>(一日薬価あわせ) | 加算額分 <sup>※1</sup> |
| 比較薬の薬価               |                    |

<原価計算方式>

|       |                    |                   |
|-------|--------------------|-------------------|
| 消費税   |                    | 加算額分 <sup>※</sup> |
| 流通経費  |                    |                   |
| 製品総原価 | 営業利益 <sup>※2</sup> | 1                 |

○類似薬効比較方式又は原価計算方式のいずれにおいても、当初の薬価から、収載時の外国平均価格調整、収載後の加算、再算定等による薬価の引上げ又は引下げがあり得る。

※1 有効性、安全性等の程度に応じて薬価全体を+5~+120%の範囲で補正

※2 有効性、安全性等の程度に応じて営業利益率を-50~0%の範囲で補正

○ 材料価格算定の概略  
 <類似機能区分比較方式>

|              |                    |
|--------------|--------------------|
| 類似機能区分の材料価格分 | 加算額分 <sup>※1</sup> |
| 類似機能区分の材料価格  |                    |

<原価計算方式>

|       |      |                         |
|-------|------|-------------------------|
| 消費税   |      |                         |
| 流通経費  |      |                         |
| 製品総原価 | 営業利益 | 営業利益率の補正分 <sup>※2</sup> |

○ 類似機能区分比較方式又は原価計算方式のいずれにおいても、当初の材料価格から、収載時の外国平均価格調整、再算定等による材料価格の引上げ又は引下げがあり得る。

○ 一定の要件を満たした場合、類似機能区分比較方式の加算額の50%又は原価計算方式により算出された額の5%が迅速導入に係る評価として別途加算される。

※1 有効性、安全性等の程度に応じて材料価格全体を+1~+110%の範囲で補正。

※2 有効性、安全性等の程度に応じて営業利益率を-50~+100%の範囲で補正。

## ② ICERに応じた価格調整方法

### <論点>

- ICERが一定の幅をもって評価をされる可能性を考慮に入れた価格調整方法としては、どのような方法がふさわしいのか。
- 階段方式を採用する場合、ICERの幅が基準値をまたぐ場合の対応についてどうするのが適切か。
- 階段方式を採用する場合、階段の幅をどう設定するのが適切か。

### <対応案>

- 価格調整方法は、ICERが一定の幅をもって評価された場合にも対応できる階段方式とする。
- ICERの幅が基準値をまたぐ場合は、どちらの段の価格調整率を採用するのが科学的により適切かについて、中立的な専門組織で検討する。
- ICERの値が基準値をまたぐ場合の基本的な考え方は、以下の通り。
  - ・科学的により確からしい値が属する段を採用することを原則とする。
  - ・ただし、ICERの幅の両端が同様に確からしい場合は、またぐ領域の大きい方の段を採用する。
  - ・また、ICERの幅が一定以上であるなど、科学的な確からしさ(推計の精度)に課題がある場合には、ICERの幅のうち最も大きい点が属する段を採用する。

## <検討の視点>

### (i) スロープ方式と階段方式について

- 試行的導入の経験から、特に分析に適したデータが複数ある場合などにおいて、品目の ICER を一点に決定するためには、企業との協議、専門組織での検討に大きな労力を要することが明らかとなった。また、労力を費やした場合であっても、必ずしも ICER が一点に定められるとは限らない。
- そのため、価格調整方法については、ICER が一定の幅をもって評価された場合にも対応できる方法を検討する必要がある。
- 価格調整の方法には、大きくわけてスロープ方式と階段方式があり、それぞれの長所・短所を考慮したうえでの検討が必要(表 7)。
- ICER が幅をもって評価された場合、階段方式は、
  - ・ICER の幅が同じ段の範囲内であれば価格調整率は自動的に決定される。
  - ・価格調整率が決定されれば、それ以上の協議や分析を行う必要がなくなる(ICER を一点に定める必要がない)。そのため、より多くの品目の分析・評価・価格調整を行うことができる。といった利点を有する。
- 一方、階段方式には、スロープ形式と比較して閾値前後での価格調整の幅が大きくなる、ICER の値が閾値をまたぐ場合の対応を検討する必要があるといった課題がある。
- 試行的導入では、評価結果をよりきめ細かく価格調整に反映させるという観点から、スロープ方式を採用した。一方、スロープ方式は ICER を一点に決められるという前提にたった方式であり、有識者検討会における検討結果も踏まえ、一定の幅をもった ICER に対応するためには、階段方式の方が適当ではないか。
- 有識者による検討の結果も踏まえると、閾値をまたぐ場合については、どちらの段で価格調整を行うのが科学的により妥当かについて、中立的な専門組織で検討する仕組みが望ましいのではないか。
- 閾値をまたぐ品目は一部に限られること、またいだ場合に上記の対応を行うのであれば、階段方式を採用することが適当なのではないか。(図 2)

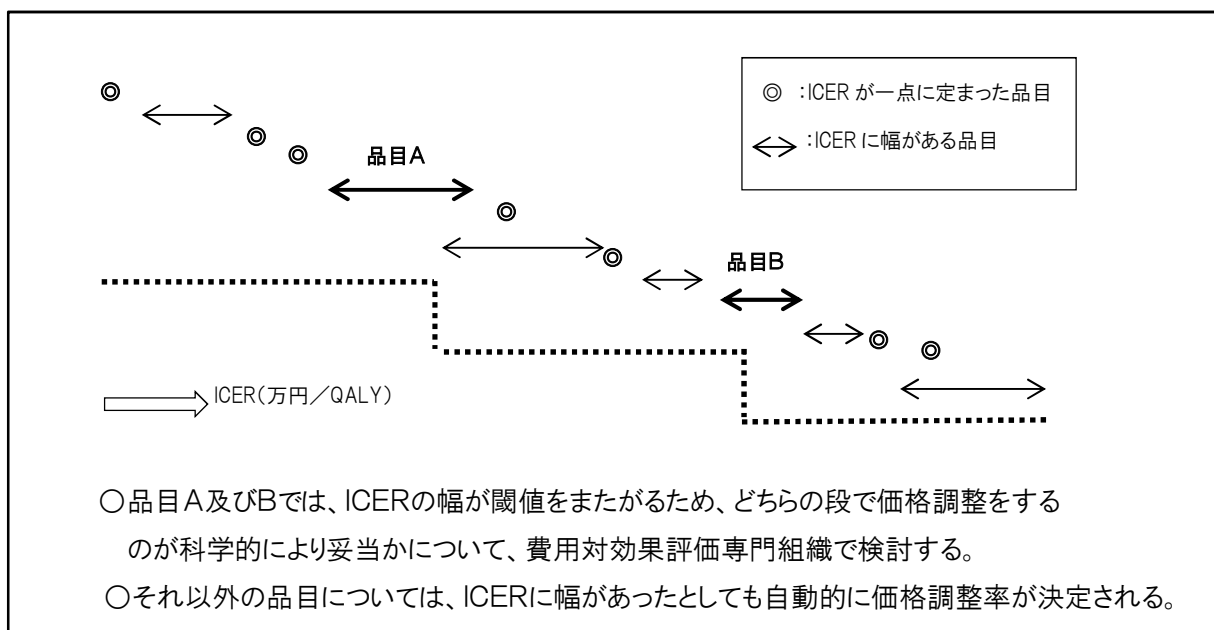
### (ii) 階段方式を採用する場合の幅の設定について

- 費用対効果評価については、分析前協議を充実させ、分析の枠組み等を決定してから分析をする場合、たとえ ICER が幅で評価される品目であっても、一定の幅に収まることが予想される。
- 階段の幅が大きくなるほど(階段の数が少なくなるほど)、閾値前後での価格の変動が大きくなるため、評価結果をきめ細やかに価格調整に反映させるためには幅は小さい方が望ましい。
- ただし、階段の幅が小さくなりすぎると階段方式の利点が失われる。
- オーストラリアでは、品目毎の ICER は 3 万豪ドル(約 245 万円)/QALY の幅で公表されている。
- こうしたことを考慮すると、500 万/QALY と 1000 万/QALY の中間の 750 万/QALY を価格調整における新たな閾値とするという対応が考えられるのではないか(図 4)。

(表 7) 価格調整方法(スロープ方式、階段方式)の利点・欠点の比較

|    | スロープ方式(試行的導入の方法)  | 階段方式   |
|----|---|--|
|    |   |  |
| 利点 | <ul style="list-style-type: none"> <li>・ICER を一点に決めることで、評価結果をよりきめ細かく価格調整に反映できる。</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・ICER が幅を持った値であるときに対応可能。</li> <li>・ICER が一定の幅を持つ場合であっても、同じ段の範囲内であれば価格調整率が決まる。</li> <li>・価格調整率が決定されれば、それ以上の分析を行う必要がなくなる。その結果、より多くの品目の分析、評価、価格調整を行うことができる。</li> </ul> |
| 欠点 | <ul style="list-style-type: none"> <li>・ICER は科学的に必ずしも一点に定まるとは限らないが、スロープ形式では ICER が幅を持った値であるときに対応できない。</li> <li>・品目によっては、ICER を 1 点に決定するために、企業との協議、専門組織での協議に大きな労力を要する。</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・段数が少ない場合、閾値の前後での価格変化が大きくなる。</li> <li>・階段の数が増えると、多くの閾値を設定する必要がある。</li> <li>・幅をもった ICER が閾値を跨いだ場合の対応を検討する必要がある。</li> </ul>   |

(図 2) ICERに幅がある品目の価格調整について(イメージ)



#### <有識者検討会における検討>

- 試行的導入で用いた方法では、ICER が幅を持った評価であるときの取扱いが難しい。
- 試行的導入とは別の方法として、基準値を複数設定し、基準値間の調整幅を一定とする方法が考えられる。この方法では、ICER が幅を持って評価された場合も結果を反映しやすい。
- ICER が一定の幅を持って評価され、かつ基準値をまたがった場合には、どちらの段で価格調整を行うのが科学的により妥当かについて、費用対効果評価専門組織で検討することが適当。
- 諸外国では、ICER が一定の幅を持って評価された場合に、中点をとるなど機械的な対応は行われていない。また、「ICER の幅が大きい」品目は、その背景としてエビデンスが少ないと考えられることから、「ICER の幅が小さい」品目よりも厳しく取り扱われている。
- オーストラリアでは、各品目の評価結果を 3 万豪ドル(約 245 万円)の幅で公表している。

#### <中医協における主な意見>

- よりきめ細やかな価格調整を行うという点で、スロープ方式の方がふさわしいという考えは変わらないが、階段方式を採用することに一定の合理性があることも理解できる。
- 一定の幅を持った ICER に対応するためには、スロープ方式より階段方式の方が適当。
- 階段の幅については、提案された 750 万円/QALY を新たな閾値として、250 万円/QALY 刻みの閾値設定は妥当と考える。
- ICER の幅が閾値をまたぐ場合の対応を専門組織で検討することには異論はないが、恣意的に判断されることのないように、考え方やルール、一定の指針を予め整理し公表すべき。
- ICER の幅が大きい品目については、より厳しく判断することをお願いしたい。



### ③ 価格調整にかかる基準値の設定

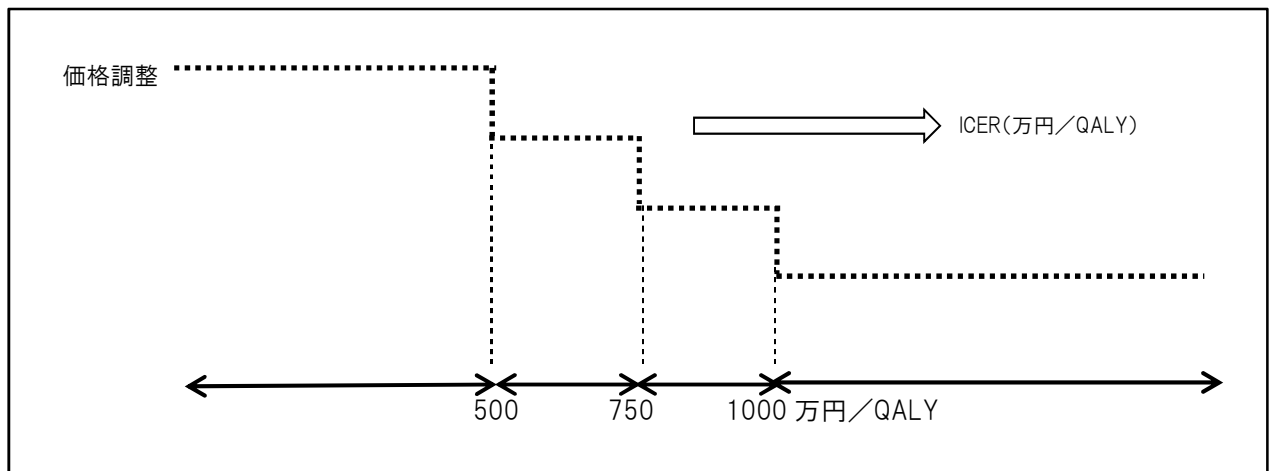
#### <論点>

- 価格調整に用いる基準値については、様々な要素を総合的に勘案して決定するのが適切ではないか。
- 現在償還されている医療技術の水準、過去の支払意思額調査の結果、1人当たりGDP、諸外国の基準値等を踏まえ、試行的導入で採用した基準値についてどう考えるか。

#### <対応案>

- 現在償還されている医療技術の水準、過去の支払意思額調査の結果、1人当たりGDP、諸外国の基準値、試行的で採用した基準値等を踏まえ、500万円及び1,000万円/QALYを採用する。
- 基準値前後での価格変動が大きくなりすぎないように、かつ階段方式の利点を失わないために、500万/QALYと1000万/QALYの中間の750万/QALYも価格調整における基準値とする(図3)。

(図3) 価格調整の方法(案)



#### <検討の視点>

- 今回検討している基準値は、国民皆保険の我が国において、様々な背景を有する国民(年齢・収入・本人や家族の健康状態等)、そして幅広い疾病に関係するものであるため、その設定にあたって、様々な要素を総合的に考慮することが求められる。

#### <有識者による検討>

- 基準値を設定するに当たっては、以下の項目を考慮することが考えられる。
  - (A)機会費用や現在償還されている医療技術の水準等
  - (B)支払い意思額(社会的な合意を含む)
  - (C)一人あたりGDP等の国民の所得、生産性等の経済指標
  - (D)諸外国の基準値
- 基準値は様々な項目を総合的に勘案して決定することが適当。現行の500万円及び1,000万円/QALYは、現時点では学術的にも正当化できる水準。
- 現時点で国として基準値の設定を目的とした新たな支払い意思額を実施する必要性は低い。

#### <中医協における主な意見>

- 国として基準値の設定を目的とした新たな支払い意思額調査を実施する必要性は低いこと、また、各要素を総合的に勘案して決定することが適当という方向性については理解する。
- 試行的導入で設定した基準値については正当化できる水準である。
- 経済・社会情勢の変化等を踏まえ、継続的に検証が必要。

④ 総合的評価において配慮が必要とされた品目の価格調整方法

|   |  |
|---|--|
| <p>&lt;論点&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 総合的評価において配慮が必要とされた品目について、価格調整でどのように配慮を行うのが適当か。</li> <li>○ 基準値を別に設定する場合、諸外国の値を参考に、どの程度の基準とすることが適当と考えられるか。</li> </ul> <p>&lt;対応案&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 総合的評価において配慮が必要とされた以下の品目については、価格調整に用いる基準値を別に設定することで配慮を行う(表3)。 <ul style="list-style-type: none"> <li>・適応症の一部に、治療方法が十分に存在しない稀少な疾患(指定難病、血友病及び HIV 感染症を対象とする)が含まれる品目</li> <li>・適応症の一部に、日本における小児用法・用量が承認されている小児疾患が含まれる品目</li> <li>・抗がん剤 (承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合)</li> </ul> </li> <li>○ 具体的には、1人当たりGDP や諸外国の基準値等を参考に、750 万/QALY、1125 万/QALY、1500 万/QALY とする(図4)。</li> <li>○ 適応症の一部に稀少な疾患や小児疾患が含まれる品目については、当該品目の適応症のうち、該当するものについてのみ、この基準値を用いる。</li> </ul> |  |
|---|--|

(表3) 配慮が必要と考えられる品目と対応(案) (再掲)

| 品目        | ①対象患者数が少ないために単価(薬価等)が高くなって<br>しまう品目  | ② ICER(QALY)では品目の有する<br>価値を十分に評価出来ない品目  |
|-----------|--|---|
| 対象<br>品目  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・治療方法が十分に存在しない稀少な疾患<sup>(※1)</sup>のみに用いられる品目</li> <li>・小児<sup>(※2)</sup>のみに用いられる品目</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・適応症の一部に、治療方法が十分に存在しない稀少な疾患<sup>(※1)</sup>や小児疾患<sup>(※2)</sup>が含まれる場合</li> </ul> |
| 対応<br>(案) | 当該品目を費用対効果評価の対象から除外する <sup>(※4)</sup>  | 評価の対象とするが、総合的評価及び価格調整で配慮を行う <sup>(※5)</sup>   |

(※1) 指定難病、血友病及び HIV 感染症を対象

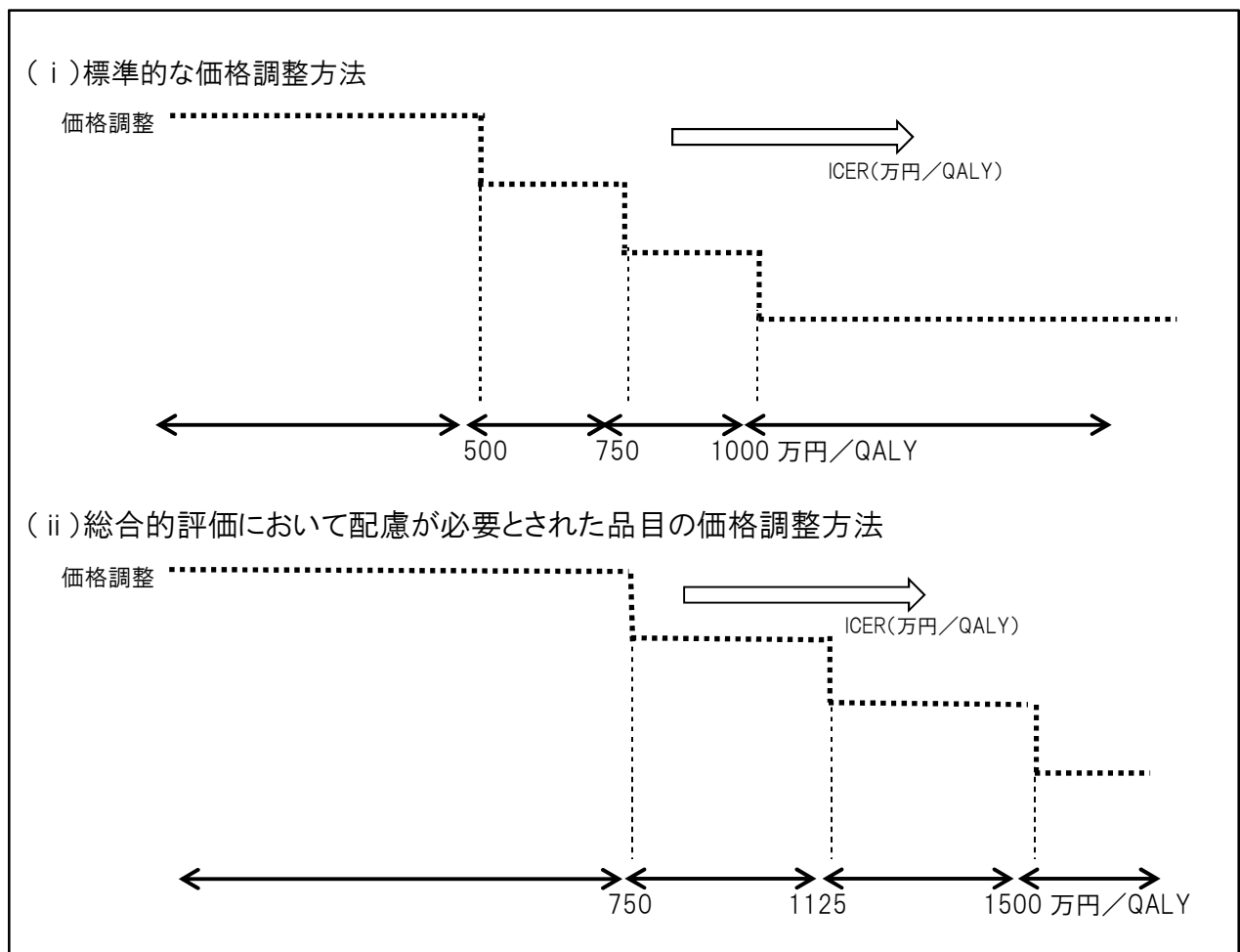
(※2) 日本における小児用法・用量承認が取得されている品目

(※3) 承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合に配慮を行う

(※4) ただし、市場規模の大きな品目(350 億円以上)、単価が高い品目等については、中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とする

(※5) 「公的介護費や生産性損失」を含めた分析結果については、国内の知見に基づき行われたものに限り、併せて提出することは可能とする。価格調整には用いないが、提出された分析結果は公表し、事例を集積した上で、今後の仕組みの参考とする。

(図4)総合的評価において配慮が必要とされた品目の価格調整方法



<検討の視点>

- 総合的評価において配慮を行うことが想定される品目は、対象疾患が少ないため単価が高くなってしまふ品目や、ICER では品目の有する価値を十分に評価できない品目が想定される(表3の下線部)。
- これらの品目の価格調整方法としては、有識者検討会での検討によると、3通りが考えられる(表4)。
- 試行的導入における経験や、有識者検討会による検討の結果、諸外国における取組状況等を踏まえると、これらのうち基準値を別に設定する方法(表8の③の方法)が有力な候補となるのではないか。

(表8) 価格調整における配慮として考えられる方法

| 方法           | 概要  |
|--------------|---|
| ① ICER を割り引く | ・試行的導入で採用した方法<br>(試行的導入では、1 項目該当ごとに ICER を 5%割引し価格調整を行った。)                    |
| ② 価格調整率を圧縮する | ・配慮が必要とされた品目の、価格調整率を圧縮する  |
| ③ 基準値を別に設定する | ・英国、オランダ、スウェーデン、韓国等で採用されている方法 <sup>(※)</sup><br>・抗がん剤や難病薬等について、通常よりも高い基準値を用いる |

(※) 諸外国における基準値の設定

英国では終末期における延命治療(期待余命 24 ヶ月以下の患者に対して 3 ヶ月以上の延命が期待できるもの)は通常の基準値よりも慣例的に高い値(2.5 倍)が用いられる。

オランダでは疾病負荷の高い疾患について、スウェーデンでは抗癌剤や難病薬等については、通常よりも高い基準値(オランダ 2~4 倍、スウェーデン 2 倍)が用いられる。韓国でも、抗癌剤や難病薬等については、通常よりも高い基準値(2 倍)が用いられている。

#### <有識者検討会による検討>

- ICER を 5%割り引いた後の値は、ICER の定義から外れるものであり、その意味を科学的に解釈することが難しい。
- 試行での価格調整方法の場合、500 万円/QALY から 1000 万円/QALY の間(スロープ部分)に位置しないと ICER を 5%割り引いても価格調整が変化しないため、影響が限定的である。
- 諸外国においては、稀少疾患や重篤な疾患等について、評価の過程で定性的に考慮するか、あるいは基準値を変化させることで対応している。
- 諸外国における取組を考慮すると、基準値を変化させる方法(稀少疾患や重篤な疾患等の基準値を変化させる(高めにする))が、最も有力な候補となり得る。

#### <中医協における主な意見>

- 抗がん剤などについて、ICER を割り引くのではなく、基準値を別に設定するという考え方は理解できる。
- 試行的導入の基準値である 500 万円/QALY は日本の GDP 比で 1.18 であり、これ自体が既に他国より高く設定されている。これを 2 倍にすると 2.36 となり、諸外国と比べて高くなる。
- 基準値を 500 万円/QALY の 2 倍以上にするのは無理がある。2 倍以内で検討するのが適当。

⑤ 価格調整率

<論点>

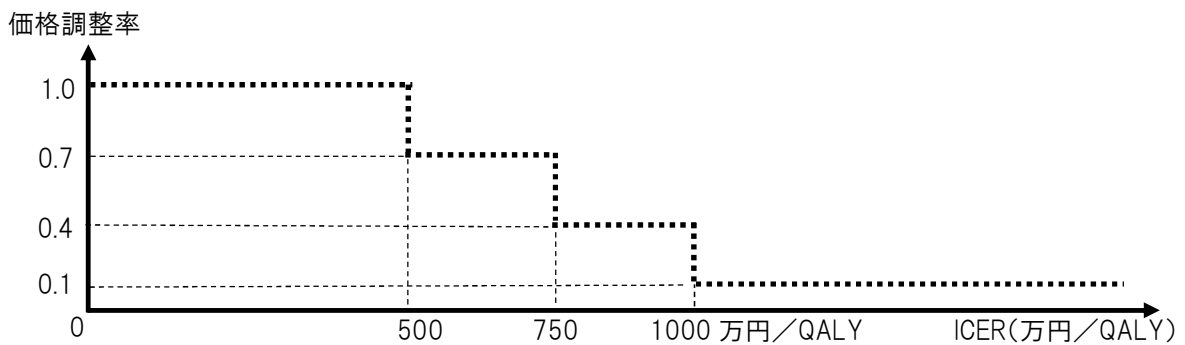
- 類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)と原価計算方式の品目それぞれについて、価格調整率をどう設定するか。
- 費用対効果評価の結果(ICER)に基づき確実に価格調整を行うこと、ならびに患者に必要な医薬品等の安定供給を確保するという観点から、求められる方策についてどう考えるか。

<対応案>

(i) 類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)

- 価格調整対象部分について、以下の価格調整を行う(図5)。
  - ・ICER 500 万円未満/QALY : 価格調整率 1.0 (価格調整なし)
  - ・ICER 500-750 万円未満/QALY: 価格調整率 0.7
  - ・ICER 750-1000 万円未満/QALY: 価格調整率 0.4
  - ・ICER 1000 万円以上/QALY : 価格調整率 0.1
- 患者に必要な医薬品等の安定供給を確保するという観点から、最終的な薬価(材料価格)は調整前の薬価(材料価格)を 10%または 15%引き下げた価格を下げ止めとする。ただし、ICER 500 万円/QALY となる価格 (抗がん剤等では 750 万円/QALY となる価格)を下回らない価格とする。

(図5)類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)の加算部分、及び原価計算方式における加算部分(医薬品)、営業利益率の補正部分(医療機器)の価格調整率

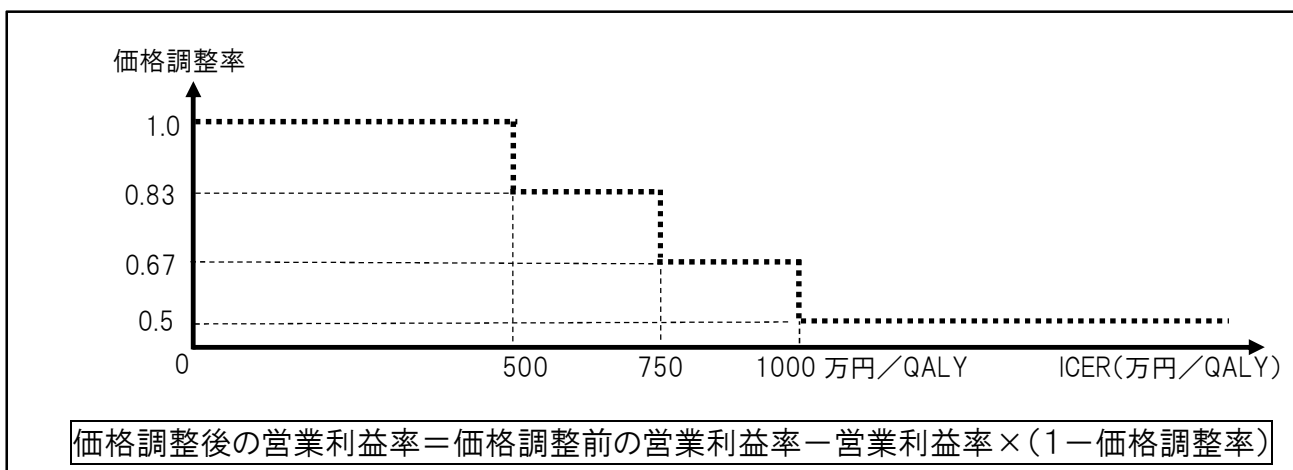


$$\text{価格調整後の有用性系加算等} = \text{価格調整前の有用性系加算等} - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率})$$

(ii)原価計算方式

- 「原価計算方式における加算部分(医薬品)、または営業利益率の補正部分(医療機器)」については、類似薬効比較方式(類似機能区分比較方式)の価格調整範囲と同様の価格調整率を用いる(図5)。
- 「営業利益率」については、以下の価格調整を行う(図6)。
  - ・ICER 500 万円未満/QALY : 価格調整率 1.0 (価格調整なし)
  - ・ICER 500-750 万円未満/QALY: 価格調整率 0.83
  - ・ICER 750-1000 万円未満/QALY: 価格調整率 0.67
  - ・ICER 1000 万円以上/QALY : 価格調整率 0.5
- 患者に必要な医薬品等の安定供給を確保するという観点から、最終的な薬価(材料価格)は調整前の薬価(材料価格)を 10%または 15%引き下げた価格を下げ止めとする。ただし、ICER 500 万円/QALY となる価格 (抗がん剤等では 750 万円/QALY となる価格)を下回らない価格とする。

(図6)原価計算方式における営業利益率の価格調整率



#### <検討の視点>

- 価格調整率については、価格調整範囲や価格調整方法を踏まえて検討するもの。
- まず、費用対効果評価の結果(ICER)に基づき確実に価格調整を行うことが原則。その上で、患者に必要な医薬品等の安定供給を確保するという観点も求められることから、価格調整にあたってはそれらのバランスを考慮する必要がある。
- 併せて、費用対効果評価の結果については、薬価・材料価格制度を補完するという観点から活用することを基本として検討する必要がある。

#### <中医協における主な意見>

- 安定供給の観点からも、下げ止めは必要な措置である。
- 類似薬効比較方式では、加算の部分が相当大きい場合には、下げ止めをするということだけでよいと考える。
- 原価計算方式では、類似薬比較方式との違いをつけるべき。市場拡大再算定では類似薬効比較方式での15%に対して、原価計算方式では25%が下限となっている。これと同様に差をつけるべき。
- 加算部分が大きい場合にはそれなりの配慮は必要と考えるが、加算が小さいときに配慮が必要なのかどうかについては検討が必要。



⑥ 比較対照技術に対して費用が削減される品目(ICER が算出不能な品目)等への対応

<論点>

- 費用対効果の観点から活用が望ましいとする品目の範囲をどうするか。
- 価格調整について、どのような方法が望ましいか。

<対応案>

( i ) 比較対照品目(技術)に対し効果が増加し(又は同等であり)、費用が削減される品目(ICER の算出が不可能な品目の場合)

- これらの品目は、費用対効果の観点からはその活用が望ましいものであるため、これらのうち以下の条件をいずれも満たすものについては、価格の引上げを行う。

条件① 比較対照品目(技術)より効果が高いこと(又は同等であること)が臨床試験等により示されていること

条件② 比較対照品目(技術)と比べて、全く異なる品目であること、又は基本構造や作用原理が異なるなど一般的な改良の範囲を超えた品目であること

- 引上げ率は価格調整範囲<sup>(※1)</sup>の50%とし、かつ引上げ額は調整前の価格全体の10%を上回らない額とする。また、引上げ額は比較対照品目(技術)と比べた患者1人あたりの費用削減額の2分の1に相当する額以下とする。

( ii ) ICER が200万円/QALY未満の品目

- これらの品目は、費用対効果の観点からはその活用が望ましいものであるため、これらのうち以下の条件をいずれも満たすものについては、価格の引き上げを行う。

条件① 比較対照品目(技術)より効果が高いことが別に定める条件<sup>(※2)</sup>を満たす臨床試験等により示されていること

条件② 比較対照品目(技術)と比べて、全く異なる品目であること、又は基本構造や作用原理が異なるなど一般的な改良の範囲を超えた品目であること

- 引上げ率は価格調整範囲<sup>(※1)</sup>の25%とし、かつ引上げ額は調整前の価格全体の5%及びICERが200万円/QALYとなる価格を上回らない額とする。

(※1)営業利益は除く。

(※2)別に定める条件…以下のいずれも満たす臨床研究等

( i ) 受理あるいは掲載時点において、Clarivate analytics社の“InCites Journal Citation Reports”により提供されているimpact factor(5年平均)が15.0を超える学術誌に原著論文として受理されている(ただし、レビュー雑誌、創刊10年以内の雑誌はのぞく)。

( ii ) ( i )を満たす臨床研究等のうち、日本人を含むアジア人を対象とした集団において、費用対効果評価における比較対照品目(技術)よりも優れていることが統計学的に示されている。

<検討の視点>

- 費用削減品目等、費用対効果の観点から活用が望ましいものについては、試行的導入における取扱いも踏まえ、具体的な方策を検討する必要がある。
- また、当該品目が有する医療経済上の有用性と、価格引上げ等による影響とのバランスを考慮したうえで制度設計を行う必要がある。

<中医協における主な意見>

- 費用対効果評価の観点から、その活用が望ましい品目の取り扱いについて、基本的に試行的導入で採用した方法をもとに、検討するという点によろしいのではないかと。
- 比較対照技術に対して費用が削減される品目で、一定の条件を満たす品目については、価格の引き上げ等、医療経済上の有用性のバランスを考慮した制度設計を検討するという方向性は支持できる。

## ⑦ 価格調整のタイミング、手続き

### <論点>

- 評価結果を迅速に価格に反映させるとの観点から、改定薬価・材料価格の施行をどのタイミングで行うのが適当か。
- 調整後価格の公表から価格調整まで、在庫への影響等を踏まえ、一定の期間を設ける必要性についてどう考えるか。
- 価格調整の手続きについて、中立性及び透明性を確保する観点から、どのような方法が望ましいか。

### <対応案>

- 評価結果を迅速に価格に反映させる観点から、新医薬品、新医療機器(C1等)の保険収載のタイミング(年4回)で費用対効果評価の結果に基づく価格調整を行う。
- 価格調整にあたっては、中立性及び透明性を確保する観点から、専門組織における評価結果(案)、それに基づく価格調整結果(案)を中医協総会に報告し、了承を得る。
- これらの結果については、薬価算定組織、保険医療材料専門組織にも報告する。
- 調整後価格の公表から価格調整までは、在庫への影響等を考慮し、一定の期間を設ける。

### <検討の視点>

- 費用対効果評価がなされた品目については、その結果をより速やかに価格に反映することが望ましい。
- 新医薬品、新医療機器(C1、C2、B3)については、年4回保険収載しており、費用対効果評価の結果に基づく価格調整についても、同じく年4回の保険収載の機会に行うこととしてはどうか。
- 併せて、在庫への影響等を踏まえ、調整後価格の公表から実際の価格調整までには一定の期間を設ける必要がある。
- 価格調整については、分析及び評価が適正な手続きにより行われたこと、並びに、定められた価格調整方法によって行われたことを中立的かつ透明性をもって確認できる仕組みが必要。
- こうした観点、さらには品目の選定を中医協総会で行う方向で検討していることから、価格調整についても中医協総会の了承を得ることとしてはどうか。
- 具体的には、専門組織における評価結果(案)、作成した価格調整結果(案)を中医協総会に報告し、了承を得るという手続きが考えられる。
- また、これらの結果について、薬価算定組織、保険医療材料専門組織に報告することとしてはどうか。

### <中医協における主な意見>

- 費用対効果評価の結果を速やかに価格に反映するという考え方は理解できる。ただし、価格調整が煩雑になると現場の負担は大きくなる。費用対効果評価は薬価、材料制度を補完するという位置づけにあることなどを総合的に考慮して、価格調整のタイミングは決定すべき。市場拡大再算定という前例を参考に、最大でも年4回とすべき。
- 価格調整結果を中医協総会で了承するという手続きで良いと考える。

## (6) 費用対効果評価にかかる体制の強化

### <論点>

- 費用対効果評価にかかる体制の強化についてどう取り組むのか。
- 公的分析の体制強化のために求められる取組とはどのようなものか。

### <対応案>

- 今後、人材の育成をはじめとした、費用対効果評価にかかる体制の強化に取り組む。
- 具体的には、公的分析を実施可能な人材を育成するため、新たに教育プログラムの設置を検討する。併せて、厚生労働省ならびに国立保健医療科学院の体制充実を図る。

### <検討の視点>

- 今後、対象品目数を増加していくことが求められる中、人材の育成をはじめとする公的分析実施体制の強化は喫緊の課題。
- 公的分析を実施可能な人材を育成するためには、新たに教育プログラムを設置することが必要。諸外国のプログラムの現状や、できるだけ早期の人材育成が求められることなどを踏まえると、1年程度のプログラムとすることが現実的ではないか。

### <中医協における主な意見>

- 厚生労働省においては、必要な予算を確保したうえで人材の育成に積極的に取り組んでほしい。
- 現行の組織体制で評価を行う場合、年間での対応可能な品目数が限られてくる。人材の育成も含め、費用対効果評価の体制強化に積極的に取り組んでほしい。(再掲)
- 公的实施体制の強化を図って、そのための継続的かつ安定的な人材供給体制を担保することが一番重要ではないか。
- 例えば大学院の修士課程などに一定の学位を取得できる、そして学会、企業などからも評価が得られるような仕組みを国全体として整備していくことも有効ではないか。
- 業界団体としても人材育成をはじめとする体制の強化に取り組むべきである。