

医薬品等の費用対効果評価案について

中医協 総-4
3 . 3 . 24

	品目名	効能・効果	収載時価格※1	うち有用性系 加算率	市場規模 (ピーク時予測)	費用対効果評価区分	総会での 指定日	頁
①	テリルジー100 エリプタ (ゲラク・スミスクライン)	COPD (慢性閉塞性肺疾患)、 気管支喘息※2	4,012.30 円 (14 吸入 1 キット) 8,597.70 円 (30 吸入 1 キット)	10%	236 億円	H1 (市場規模が 100 億円以上)	2019/5/15	2
②	キムリア (ノバルティスファーマ)	白血病	33,493,407 円	35%×0.2※3 (7%)	72 億円	H3 (単価が高い)	2019/5/15	8

※1 収載時価格は、キット特徴部分の原材料費を除いた金額。

※2 気管支喘息については令和2年11月27日に効能追加された。

※3 加算係数 (製品総原価の開示度に応じた加算率)・・・開示度 80%以上 : 1.0、50~80% : 0.6、50%未満 : 0.2

医薬品等の費用対効果評価案について

対象品目名：テリルジー100 エリプタ 14 吸入用、同 30 吸入用（フルチカゾンフランカルボン酸エステル・ウメクリジニウム臭化物・ビランテロールトリフェニル酢酸塩）

製造販売業者名：グラクソ・スミスクライン株式会社

効能又は効果：

A 気管支喘息（吸入ステロイド剤、長時間作用性吸入抗コリン剤及び長時間作用性吸入 β 2 刺激剤の併用が必要な場合）

B 慢性閉塞性肺疾患（慢性気管支炎・肺気腫）の諸症状の緩解（吸入ステロイド剤、長時間作用性吸入抗コリン剤及び長時間作用性吸入 β 2 刺激剤の併用が必要な場合）

※ 上記Aの効能又は効果は、令和2年11月27日に追加されたものであり、上記Bに対する企業分析の終了後であるため分析の対象とはならない。

対象 集団	前治療	前治療詳細	好酸球数	比較対照技術	ICER（円/QALY） の区分 ※5、6	患者割合 （%）*
A	3 剤併用	MITT※ ¹ （2 製剤吸入における3 剤併用）	100/ μ L 未満	MITT※ ¹ （2 製剤吸入における3 剤併用）	費用削減※ ⁷	4.5
B			100/ μ L 以上		費用削減※ ⁷	14.0
C	3 剤併用	MITT（2 製剤吸入における3 剤併用）	100/ μ L 未満	ICS※ ² /LABA※ ³	分析不能※ ⁸	0
D			100/ μ L 以上		分析不能※ ⁸	0
E	3 剤併用	MITT（2 製剤吸入における3 剤併用）	100/ μ L 未満	LAMA※ ⁴ /LABA	費用増加※ ⁹	0.1
F			100/ μ L 以上		費用増加※ ⁹	0.2
G	2 剤併用	ICS/LABA	100/ μ L 未満	ICS/LABA	200 万円/QALY 未満	14.0
H			100/ μ L 以上		200 万円/QALY 未満	40.2
I	前治療： 2 剤併用（LAMA/LABA）		100/ μ L 未満	LAMA/LABA	費用増加※ ⁹	6.5
J	もしくは 前治療単剤（LAMA）		100/ μ L 以上		Dominant※ ¹⁰	19.7
K	単剤	LAMA	100/ μ L 未満	ICS/LABA	Dominant※ ¹⁰	0.2
L			100/ μ L 以上		200 万円/QALY 未満	0.7

※1 MITT （複数回吸入による）3 剤併用療法（LAMA/LABA/ICS）

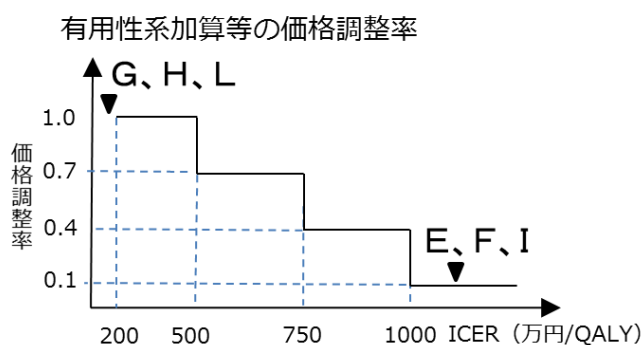
※2 ICS 吸入ステロイド薬

※3 LABA 長時間作用型 β 2 刺激薬

※4 LAMA 長時間作用性抗コリン薬

- ※5 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いた ICER の区分を用いる。
- ※6 決定された ICER の区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。
- ※7 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。
- ※8 当該集団における追加的有用性の評価に IMPACT 試験のデータを用いることは、試験デザイン上の課題から適切ではないと判断されたが、他に代替するデータは存在しないことから、当該集団におけるテリルジーの追加的有用性は検討できず、「分析不能」とした。
- ※9 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。
- ※10 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。
- * NDB に基づく患者割合（好酸球数による対象集団の割合は、IMPACT 試験の結果をもとに算出した。）。

(補足) 分析対象集団ごとの ICER の区分



※以下は左図に示せない

- ・ A、B (費用削減)
- ・ C、D (分析不能)
- ・ J、K (Dominant)

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

(参考) テリルジーの費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組みについて

分析対象疾患 B 慢性閉塞性肺疾患 (COPD) (慢性気管支炎・肺気腫)

決定された分析枠組み	対象とする疾患	慢性閉塞性肺疾患 (慢性気管支炎・肺気腫)				
	サブグループの設定と比較対照技術	以下のAからLのサブ集団について分析を実施することを原則とするが、まずはIMPACT試験 (あるいは、可能な場合はその他の文献も含む) のサブグループ解析の結果に基づき、追加的有用性の有無や程度を評価する。				
		前治療	前治療の詳細	好酸球数		比較対照技術 ※1
				100/ μ L 未満	100/ μ L 以上	
		3剤併用	MITT※2 (2剤吸入における3剤併用)	A	B	MITT※2 (2剤吸入における3剤併用)
				C	D	ICS※3/LABA ※4
				E	F	LAMA※5/LABA
		2剤併用	ICS/LABA	G	H	ICS/LABA
		前治療: 2剤併用 (LAMA/LABA) もしくは 前治療単剤 (LAMA)		I	J	LAMA/LABA
		単剤	LAMA	K	L	ICS/LABA
その他		分析対象外				
その他	好酸球数 100/ μ L をカットオフとした分析をメイン分析とし、150/ μ L とした場合の感度分析も行う。					

※1 該当する吸入剤のうち最も安価なものを用いる。

※2 MITT (複数回吸入による) 3剤併用療法 (LAMA/LABA/ICS)

※3 ICS 吸入ステロイド薬

※4 LABA 長時間作用型 β 2 刺激薬

※5 LAMA 長時間作用性抗コリン薬

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

○ 分析対象集団の設定と効果指標について

(専門組織 (1回目) の見解)

- 分析対象集団の設定について、企業は臨床試験の枠組みを踏襲すべきとの意見だが、当該臨床試験のデザインについては、海外でも課題が指摘されており、より臨床の実態

に応じた設定とすることが妥当である。

- ・ 臨床的観点からは、喘息様病態に基づき集団を設定すべきである。喘息様病態を直接定義することは難しいため、その指標として好酸球数を用いることが妥当である。
- ・ 分析対象集団の設定にあたり、サンプルサイズが小さくなることも想定されるが、分析の結果、極端にサンプルサイズが小さくなった場合の対応は、改めて分析後に専門組織で検討すればよい。
- ・ 効果指標については、臨床的意義を踏まえ「増悪」とすることが妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ 分析集団の設定について、臨床試験の枠組みを用いず、前治療の内容と好酸球数の2つの観点で事後的にサブグループを設定することは、サンプル数が極端に小さい多数の分析対象集団を構成することにより、分析結果の不確実性が高くなることから、不適當である。
- ・ 効果指標については、「増悪」以外に一秒量などの呼吸機能や St. George's Respiratory Questionnaire (SGRQ: COPD における疾患特異的な健康関連 QOL 評価尺度) を総合的に評価すべきである。また、分析枠組みに係る議論において論点とされていないことが、専門組織においても議論されていないことから、不適當である。
- ・ 分析モデルの決定前から、使用する効果指標を定めることは適切でない。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 前治療の内容と好酸球数には関係があり、前治療の内容と好酸球数で分けて集団を設定することは妥当である。
- ・ 臨床実態等に基づき分析対象集団を設定することが重要であり、極端にサンプルサイズが小さくなった場合の取扱いについては、分析後に専門組織で検討すればよい。
- ・ 呼吸機能や QOL についても効果指標として検討の余地はあるが、いずれも「増悪」に包含される概念であり、より臨床的に重要な要素であること等を踏まえ、「増悪」を効果指標とすることが妥当である。
- ・ 分析枠組みに係る議論の論点については、企業及び公的分析の双方から提示しているものである。また、専門組織においては、企業から提出された資料に基づき、効果指標に係る議論を行った上で、分析枠組みの決定時に「増悪」を効果指標として用いることが妥当であると定めた。

○ 比較対照技術について

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 比較対照技術について、企業は臨床試験で設定された治療法を提案しているが、ガイドラインの趣旨に鑑み、最も安価で費用対効果のよいものを比較対照技術とすることが妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ なし

3. 費用対効果評価結果案策定に係る専門組織での主な検討事項

○ 効果指標として「増悪」以外の項目を設定することについて

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 分析枠組みでの決定のとおり。

(企業からの不服意見)

- ・ 本剤の薬事承認上の効能効果は COPD の「諸症状の緩解」であること、COPD ガイドラインにおいても臨床的観点から「増悪」に加えて呼吸機能や QOL を含めた総合的な評価が適切だとされていることから、本剤の効果について「増悪」のみで評価することは不适当である。
- ・ 「増悪」は、治験参加者の半数程度にのみ認められた発現頻度の低い指標であり、一般的に多数の症例集積が必要とされることから、今回の分析枠組みに基づくサンプル数が極端に小さい多数の分析対象集団において、「増悪」のみを指標とすることは妥当ではない。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 効果指標については、既に分析枠組みとして決定している。

○ 分析対象集団 I 等のサンプルサイズが小さい集団の取扱いについて

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 分析対象集団 I は、前治療が ICS を含まない 2 剤併用/単剤かつ好酸球数 $100/\mu\text{l}$ 未満の集団であり、基本的には喘息様病態を含まない患者である。こうした患者も、ICS を含む本剤の適応となっており、本剤の費用対効果評価にあたっては学問的、病態的、臨床的にも極めて重要な集団である。また、公的分析において当該集団について「増悪」に関し有意な改善がみられなかったことは、病態生理とも合致する。
- ・ サンプルサイズが小さい集団については、患者割合により加重平均することで評価が可能である。

(企業からの不服意見)

- ・ 「増悪」は一般的に多数の症例集積が必要な指標であるが、当該集団は症例数が著しく少なく、結果の検出力が非常に低くなることから、不確実性が大きくなり、科学的に不適切である。臨床的な観点からも、「増悪」のみで本剤の臨床的有用性を評価するのは妥当ではない。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 当該集団の設定及び効果指標については、分析枠組みを決定する段階で定められた事項である。
- ・ 症例数が少ないことについては、患者割合により加重平均をすることで評価が可能である。

○ 効果は同等で費用が増加する集団 (分析対象集団 E、F、I) の取扱いについて

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 当該集団については、公的分析のとおり、効果は同等で費用が増加すると考えられる。
- ・ 効果は同等で費用が増加する集団の取扱いについて、明示的に規定はされていないがその趣旨を踏まえ、ICER の区分「1000 万円/QALY 以上」と同様の扱いとすることが妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ IMPACT 試験のデータを使用した分析において、当該集団の追加的有用性はいずれも認められており、効果が同等であるという評価は妥当ではない。
- ・ 仮に効果が同等だとしても、本剤の比較対照技術に対する費用増分は限定的であり、費用の差分に応じた一定の考慮等、慎重な対応が必要である。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 当該集団では、QALY の増分が限りなくゼロに近く、ICER は無限大となることから、ICER の区分については、「1000 万円/QALY 以上」と同様の取扱いとすることが妥当である。

○ 分析対象集団 C、D、E、F に係る取扱いについて

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 当該集団については、枠組み決定の際、臨床試験の設定に基づき分析対象として設定した。
- ・ 公的分析における
 - ✓ 分析対象集団 C、D は、比較対照技術が COPD の治療に必要な LAMA を除外した集団であり、「分析不能」、
 - ✓ 分析対象集団 E、F は、臨床試験において喘息用病態の有無にかかわらず ICS を無作為に除外しており、患者の症状悪化を招く可能性があるため、当該データを使用せず、テリルジーとは異なる成分の LAMA/LABA/ICS の 3 剤併用と LAMA/LABA の 2 剤併用のデータを用い、「費用増加」、とした結論は、いずれも妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ 本剤は 3 成分配合剤であるにも関わらず、2 成分配合剤など他剤の成績を外挿することは適切ではない。
- ・ このような事例は、海外において実施された HTA 評価においても存在しない。
- ・ 分析枠組みの決定時に、専門組織において、IMPACT 試験のサブグループ解析の結果に基づき追加的有用性の有無や程度を評価することとされているにも関わらず、IMPACT 試験を参照しないことは、専門組織で決定された分析枠組みに反するため、適切でない。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 臨床試験が、臨床実態から乖離した枠組みで実施されており、臨床試験のデータを使用することは不適當である。その代替として、テリルジーと異なる製品を用い分析を行うことは、薬効を考慮してもそれほど違いがある薬剤ではなく、妥当である。
- ・ なお、企業分析においても、分析対象集団 A、B の中で、MITT とテリルジーを同等の効果で費用が削減とされるものと評価しており、テリルジーと異なる 3 剤の組み合わせを、テリルジーの効果を予測するものとして外挿可能とする考え方につながる。

<参考：本資料に係る留意事項>

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

(以上)

医薬品等の費用対効果評価案について

対象品目名：キムリア点滴静注（チサゲンレクルユーセル）

製造販売業者名：ノバルティスファーマ株式会社

効能、効果又は性能：

A 再発又は難治性の CD19 陽性の B 細胞性急性リンパ芽球性白血病（B-ALL）

B 再発又は難治性の CD19 陽性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫（DLBCL）

対象集団	比較対照技術	ICER（円/QALY）の区分 ※1、2、3	患者割合 （%）
分析対象疾患 A 再発又は難治性の CD19 陽性の B 細胞性急性リンパ芽球性白血病（B-ALL）			
①15 歳未満の集団	ブリナツモマブ （同種造血幹細胞移植（同種 HSCT） を含む）	200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満	※4
②15 歳以上 25 歳以下の集団	ブリナツモマブ （同種 HSCT を含む）	200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満	※4
③15 歳以上 25 歳以下の集団	イノツズマブ オゾガマイシン （同種 HSCT を含む）	200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満	※4
分析対象疾患 B 再発又は難治性の CD19 陽性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫（DLBCL）			
④70 歳未満の患者	サルベージ化学療法+/-同種 HSCT	750 万円/QALY 以上 1,125 万円/QALY 未満	※4
⑤70 歳以上の患者	サルベージ化学療法	1,125 万円/QALY 以上 1,500 万円/QALY 未満	※4

※1 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2年2月7日医政発0207第5号、保発0207第6号）4 費用対効果評価専門組織の開催（3）費用対効果評価案の策定②のイ、ウに該当し、価格調整における配慮が必要であるものと判断された。

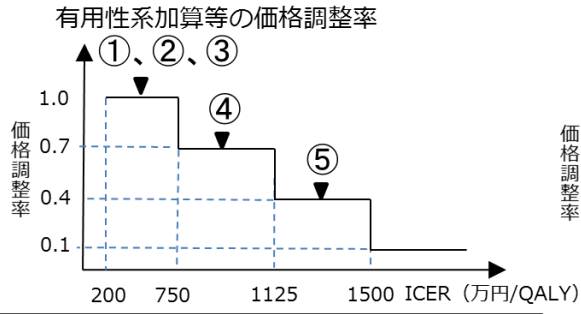
- ・イ 小児に係る用法・用量等が承認された医薬品等又は医療機器等（小児のみに用いるものを除く。）であって、その小児に係る適用症を分析対象集団として分析を行ったもの
- ・ウ 承認された効能又は効果において悪性腫瘍が対象となっており、当該悪性腫瘍を分析対象集団として分析を行ったもの

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

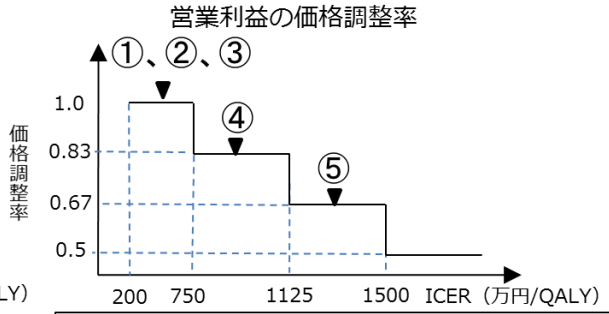
※3 決定された ICER の区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。

※4 患者割合については、企業秘密にあたることから非公表。

(補足) 分析対象集団ごとの ICER の区分



価格調整後の有用性系加算等
 = 価格調整前の有用性系加算等
 - 有用性系加算等 × (1 - 価格調整率)



価格調整後の営業利益率
 = 価格調整前の営業利益率
 - 営業利益率 × (1 - 価格調整率)

(参考) キムリアの費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組みについて

分析対象疾患A 再発又は難治性の CD19 陽性の B 細胞性急性リンパ芽球性白血病 (B-ALL)

決定された分析枠組み	対象とする疾患	<p>再発又は難治性の CD19 陽性の B 細胞性急性リンパ芽球性白血病の患者のうち、</p> <p>(1) 25 歳以下(治療時)の、以下のいずれかに該当する患者。</p> <ul style="list-style-type: none"> 初発の患者のうち、標準的な化学療法を 2 回以上施行したが寛解が得られない患者 再発の患者のうち、化学療法を 1 回以上施行したが寛解が得られない患者 同種造血幹細胞移植の適応とならない又は同種造血幹細胞移植 (同種 HSCT) 後に再発した患者 <p>(2) 第一寛解にいたったが微小残存病変 (MRD) 陽性の患者 (※)</p> <p>(3) 第二寛解にいたったが微小残存病変 (MRD) 陽性の患者 (※)</p>
	サブグループの設定と比較対照技術	<p>以下のように集団を分けて解析を実施する。</p> <ul style="list-style-type: none"> 15 歳未満の患者: 「ブリナツモマブ (同種 HSCT を含む)」 15 歳以上 25 歳以下の患者: 「ブリナツモマブ (同種 HSCT を含む)」、「イノツマブ オゾガマイシン (同種 HSCT を含む)」の両者
	その他	—

※ 企業からの不服意見を踏まえ、専門組織 (2 回目) において変更された点を見え消しで記載。

分析対象疾患B 再発又は難治性の CD19 陽性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL)

決定された分析枠組み	対象とする疾患	<p>再発又は難治性の CD19 陽性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫のうち、</p> <p>(1) 以下のいずれかの場合であって、自家造血幹細胞移植の適応とならない又は自家造血幹細胞移植後に再発した患者。</p> <ul style="list-style-type: none"> 初発の患者では化学療法を 2 回以上、再発の患者では再発後に化学療法を 1 回以上施行し、化学療法により完全奏効が得られなかった又は完全奏効が得られたが再発した場合 濾胞性リンパ腫が形質転換した患者では通算 2 回以上の化学療法を施行し、形質転換後には化学療法を 1 回以上施行したが、形質転換後の化学療法により完全奏効が得られなかった又は完全奏効が得られたが再発した場合
	サブグループの設定と比較対照技術	<p>以下のように集団を分けて解析を実施する。</p> <ul style="list-style-type: none"> 70 歳未満の患者: 「サルベージ化学療法 +/- 同種 HSCT」 70 歳以上の患者: 「サルベージ化学療法」 <p>診療ガイドラインでは対象疾患 B について同種 HSCT は 65 歳を超える患者には推奨されていないことからカットオフ値を 65 歳に設定した感度分析も実施する。</p>
	その他	サブグループのサンプルサイズが極端に小さくなった場合には、結果が出た時点で、当該サブグループの結果を費用対効果評価への採用の可否も含め検討する。

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

(i) 分析対象疾患Aに係る主な論点

○ 分析対象集団としてのMRD陽性の患者の取扱いについて

(専門組織(1回目)の見解)

- ・ MRD陽性患者について、独立した集団として検討することが妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ B-ALL治療経過におけるMRD陽性の定義が明確ではないこと等から、MRD陽性患者について、独立した集団として設定すべきではない。

(専門組織(2回目)の見解)

- ・ MRD陽性の定義が明確ではないこと、MRD陽性/陰性の臨床的意義について海外でも未だ研究段階であること等から、MRD所見のみで異質性のある集団とみなすことは妥当ではない。

→ 分析枠組みを一部変更

(ii) 分析対象疾患Bに係る主な論点

○ 年齢(カットオフ値:70歳)によるサブグループの設定及びその際の比較対照技術について

(専門組織(1回目)の見解)

- ・ 医学的には、同種HSCTの実施の有無でサブグループを設定することが妥当である。
- ・ 診療実態や専門家への意見聴取における、同種HSCTを含めたサルベージ治療が70歳を境に異なるとの意見を踏まえ、年齢を指標として設定することは妥当である。
- ・ サブグループ解析で極端にサンプルサイズが小さくなった場合の取扱いについては、分析後に専門組織で検討すればよい。

(企業からの不服意見)

- ・ 同種HSCTの適応基準について現在コンセンサスは得られておらず、実臨床では患者の状態を総合的に考慮してその適応を個別に判断されており、70歳以上の患者に対しても同種HSCTが実施されうる。そのため、患者年齢を、同種HSCTの適応の基準として用いることの価値は限定的であり、70歳という年齢でサブグループを設定することは、不適當である。
- ・ 希少疾病を対象としており、サンプルサイズが小さくなることにより分析結果の解釈が困難となることが想定され不確実性を増大することになるため、70歳で分けたサブグループの設定は不適當である。

(専門組織(2回目)の見解)

- ・ 実臨床の観点からは、同種HSCTの実施の有無の代替指標として、70歳で分けることは妥当である。
- ・ 実臨床では70歳以上の患者が一定程度いると考えられること等からも、70歳で分けることは妥当である。

3. 費用対効果評価案策定に係る専門組織での主な検討事項

(i) 分析対象疾患A及びBに共通する主な論点

- 技術の効果を推計する際のパラメータ（全生存期間、無増悪生存期間等）の設定方法について

(専門組織（1回目）の見解)

- ・ 企業分析のパラメータは、従来の医学的知見等の観点から、妥当性に課題がある。

(企業からの不服意見)

- ・ 臨床試験の結果と外挿されたデータを比較した場合に、企業分析のパラメータがより妥当である。

(専門組織（2回目）の見解)

- ・ 公的分析のパラメータに基づく分析結果も臨床試験の結果の標準偏差の範囲に含まれていることや、医学的知見等を踏まえると、企業からの不服意見は根拠に乏しい。

- 患者割合について

(専門組織（1回目）の見解)

- ・ 特段、論点にならなかった。

(企業からの不服意見)

- ・ 上市後に新たに得られた使用実績に基づく患者割合を採用するべきである。

(専門組織（2回目）の見解)

- ・ 分析ガイドラインでは、企業分析を実施した時点において使用可能であったデータを用いることとされており、それ以降に得られたデータを用いることは不適切である。
- ・ 企業が新たに提示した患者割合については、症例数が十分でないこと等から、根拠としても不十分である。

(ii) 分析対象集団Bに係る主な論点

- 技術の効果を推計する際のパラメータ（QOL 値、患者集団の平均年齢等）の設定方法について

(専門組織（1回目）の見解)

- ・ 企業分析に用いた QOL 値は日本人の健常人の値に近く、本集団の QOL 値としては過大評価されていることから不适当である。
- ・ 患者集団の平均年齢としては、企業が提案した臨床試験の平均年齢ではなく、実臨床での患者集団の平均年齢を使用するべきである。

(企業からの不服意見)

- ・ 企業分析の QOL 値は、海外の評価機関で使用された値と同じ値であり妥当である。また、その妥当性については一定の検証がなされている。
- ・ 臨床試験のデータの平均年齢を用いることについて、実臨床での患者集団の平均年齢を使用した場合の検証をした上で、一定の妥当性が示されている。

(専門組織（2回目）の見解)

- ・ QOL 値については、結果として日本人の健常人と同じ値になっており過大評価されていることから、企業分析は妥当ではない。
- ・ 理想的な環境で実施される臨床試験の患者集団の平均年齢は低いと考えられることか

ら、実臨床での患者集団の平均年齢を使用することが妥当である。

○ 少数集団となった70歳以上の集団の取扱いについて

(専門組織(1回目)の見解)

- ・ 企業分析報告書によると、当該集団は全体集団のうち一定程度(※数値は非公表)を占めており、費用対効果評価に用いるべきである。

(企業からの不服意見)

- ・ 当初の企業分析報告書にあるデータでは、当該集団は全体集団のうち一定程度を占めているが、臨床試験や新たな使用実績からは、70歳以上の患者数が少ないことが判明した。
- ・ 少数集団の解析など不確実性が高い集団について、費用対効果評価及びその結果に基づく価格調整には用いるべきではない。
- ・ 仮に用いる場合、新たに提出した使用実績による患者割合を用いることが妥当である。

(専門組織(2回目)の見解)

- ・ 臨床試験や新たな使用実績は、根拠として不十分であり、企業分析結果報告書に記載された患者割合を用いることが妥当である。

<参考：本資料に係る留意事項>

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

(以上)