

医薬品等の費用対効果評価案について

中医協 総 - 6 参考 1
3 . 5 . 1 2

	品目名	効能・効果	収載時価格	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	ユルトミリス点滴静注 (アレクシオンファーマ)	発作性夜間ヘモグロビン尿症 非典型溶血性尿毒症症候群※1	717,605 円	5%	331 億円	H1 (市場規模が 100 億円以上)	2019/8/28	2

※1 非典型溶血性尿毒症症候群については令和2年9月25日に効能追加された。

医薬品等の費用対効果評価案について

対象品目名：ユルトミリス点滴静注(ラブリズマブ)

製造販売業者名：アレクシオンファーマ合同会社

効能又は効果：

A 発作性夜間ヘモグロビン尿症

B 非典型溶血性尿毒症症候群

※ 上記Bの効能又は効果は、令和2年9月25日に追加されたものであり、上記A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。

分析対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分 ※1、2、3	患者割合 (%)
発作性夜間ヘモグロビン尿症	ソリリス点滴静注 (エクリズマブ)	費用増加※4	100

※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
アに該当し、価格調整における配慮が必要であるものと判断された。

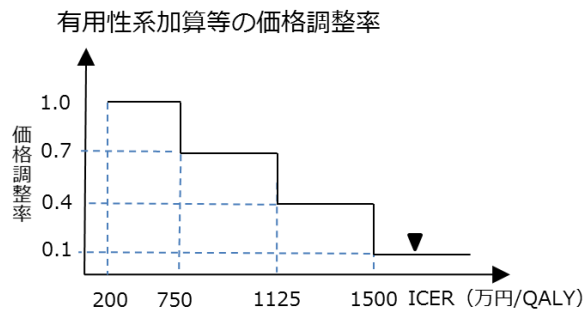
・ア 適用症の一部に治療方法が十分に存在しない疾病が含まれるものであって、当該疾病を分析対象集団として分析を行ったもの

※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 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。

(補足) 分析対象集団のICERの区分



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

(参考) ユルトミリス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 発作性夜間ヘモグロビン尿症

決定された分析枠組み	対象とする疾患	発作性夜間ヘモグロビン尿症
	比較対照技術	ソリリス点滴静注 (エクリズマブ)
	その他	「今までソリリス (エクリズマブ)の対象症例であるにも関わらず、ソリリス (エクリズマブ)以外の治療を行ってきた症例、または投与を検討したが投与をせずに、ユルトミリス(ラブリズマブ)が投与可能になったためにユルトミリス(ラブリズマブ)を投与する症例」に対しては、ソリリス (エクリズマブ)を除いた既存の治療法 (Best supportive care : BSC)を比較対照技術とした感度分析 (シナリオ分析)を実施する。

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

○ BSC を比較対照技術とした感度分析の実施について

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 当該患者において臨床的観点からソリリスによる治療を開始していない患者は一定数存在する。臨床実態に即し BSC を比較対照技術とする感度分析は実施すべきである。
- ・ 患者数の規模や各種の不確実性の観点から、基本分析ではなく感度分析 (シナリオ分析) として実施することが、妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ ユルトミリスとソリリスの対象患者は医学的観点から同じであるため、BSC からユルトミリスへ切り替える患者の数は極めて少なく、分析に不確実性が伴うことが想定される。従って BSC を比較対照とした感度分析の実施は、ユルトミリスの費用対効果の検討に資する情報とはならないため不要である。

(専門組織 (2回目) の見解)

- ・ 企業の主張は、限定的なデータに基づくものであり、臨床実態として BSC の対象となる患者が存在するのであれば、BSC を比較対照技術とした感度分析を実施すべきである。
- ・ 企業の主張では、BSC からユルトミリスへの切り替え患者は、基本的に想定されないとのことだが、定期的な通院が必要である BSC 対象患者が、通院間隔の延びるユルトミリスに移行することも考えられ、BSC を比較対照技術とした感度分析の実施は妥当である。

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

○ 投与間隔の延長による QOL の向上について

(専門組織 (1回目) の見解)

- ・ 薬剤の投与間隔の延長はイノベーションの一つの目標であり、それにより、患者の負

担感は明らかに軽減し、QOLの向上につながる。しかしながら今回企業が提出したデータのみをもって健康関連QOLの定量的な向上を評価することはできない。

(企業からの不服意見)

- ・ 一般的に投与間隔の延長によって患者負担は低減する点、実際の臨床において圧倒的にユルトミリスが選択されている点、薬事審査においても投与間隔の延長による臨床的意義を評価されている点等から、追加的有用性として投与間隔の延長によるQOL向上が認められるべきである。

(専門組織(2回目)の見解)

- ・ 企業提出資料は、投与間隔の延長により定量的な健康関連QOLの改善を示すものではないため、これのみをもって追加的有用性があるものとして評価することは困難である。

○ 効果は同等であり費用が増加する集団の取扱いについて

(専門組織(1回目)の見解)

- ・ 当該集団のICERの区分については、「1500万円/QALY以上」と同様の取扱いとすることが妥当である。

(企業からの不服意見)

- ・ なし

<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)