

中 医 協 費 - 2  
3 . 8 . 4

中医協 費 - 1 参考 2 - 2  
3 . 9 . 1 5

# 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会 ＜意見陳述資料＞

米国研究製薬工業協会 (PhRMA)

2021年8月4日

# 費用対効果評価制度に対するPhRMAの見解

## 全体について

1. 費用対効果評価は、保険償還可否の判断には用いるべきではない
2. 費用対効果評価システムを抜本的に見直すのは時期尚早である

## プロセスについて

3. 企業の分析期間については、分析前協議とは分けて少なくとも6か月は確保してほしい
4. 透明性の向上が求められる
5. 当初の薬価算定の際に考慮されていない効能追加は、原則費用対効果評価の対象外と考える

# 費用対効果評価制度 全体について

## 1. 費用対効果評価は、保険償還可否の判断には用いるべきではない

- あくまでも薬価制度を補完する制度という位置づけを変えるべきではない

## 2. 費用対効果評価システムを抜本的に見直すのは時期尚早である

- 5製品の評価が完了したところであり、十分に評価の経験が蓄積されているとは言えない
- 選定基準の拡充等による対象範囲の拡大の議論は時期尚早である

### 背景

- HTAが導入されている諸外国では、薬事承認取得から公費による償還までに多くの時間を要している
- また承認されたとしても、アクセスできる（償還される）薬剤数が限られている

### 3. 企業分析の期間について

**「分析の枠組みに基づく企業分析」の期間については、分析前協議とは分けて、少なくとも6か月は確保してほしい（分析前協議と企業分析期間合わせて9か月ではなく）**

- 企業は合意された分析枠組みに基づき分析を実施、検証、レポートの作成を行うため、時間短縮は困難
- 当初予定されていなかった分析が必要になった場合は、追加で時間が必要となるため、個別に分析期間の設定を検討いただきたい

#### 6か月以上かかる個別事由の例

- 企業が提案した分析の枠組みと異なる枠組みが合意された場合、その枠組みに沿った**臨床試験データの再解析が必要となる**
- **分析前協議においてNDBを使用することが合意された場合、データの入手までに数か月の期間を有する**

**分析前協議と企業分析を、合わせて9か月で終了させるためには：**

- 分析前協議を3か月程度で完了させる必要があるが、そのためには2回目の分析前協議までに分析枠組みについて合意する必要がある
- 企業が提案した枠組みとは大きく異なる枠組みが提案された場合、2回目までに合意することは困難であると考えられる

## 4. 透明性の確保

プロセスの透明性を確保し、科学的な議論を推進するために、下記が必要である

### ① 詳細な議事録の公開

- 分析前協議および専門組織での議論の透明性を確保するため、詳細を議事録に残し、企業秘密はマスキングしたうえで公開を要望する
- 議事録には、合意事項、合意に至らなかった事項および患者集団、比較対象技術、使用されたデータのそれぞれが選択された理由を明記いただきたい。

### ② 専門家の同席

- 臨床的視点等を考慮するため、科学院の同意を必要としない形での企業側の外部専門家（臨床専門家・医療経済専門家）の同席を要望する

### ③ ガイドラインのアップデートやQ&Aの発出

- 制度は、通知等に記載されている内容通りに運用されるべきである。解釈が必要である場合は、業界団体と議論の上で事前連絡およびQ&Aを作成することを要望する
- Q&Aが発出されることによって、専門組織と企業サイドの相互理解が向上することにより、繰り返しの議論が減少し、結果として当制度の運用をスムーズにすることが期待される

## 5. 効能追加について

1. **当初の薬価算定の際に考慮されていない効能追加は原則、費用対効果評価の対象外と考える**
  - ・ 当制度は薬価の有用性加算部分の妥当性を検証するために導入された制度であり、有用性加算の設定根拠として評価されていなかった効能追加を、対象とすることは制度の趣旨に反していると考え
  - ・ また効能追加に関わる市場の変化等は現行の薬価制度で考慮されている
2. **対象とする場合でも、限定的にしていきたい**
  - ・ 企業分析提出前の効能追加については、主たる効能が変化した場合のみ対象とすべきである
3. **効能追加の分析期間についても、分析の枠組みに基づく企業分析の期間は少なくとも6か月は確保していきたい**
  - ・ 効能が異なれば、データやモデルを安易にリユースできるものではなく、簡略化できるところは限られている
  - ・ したがって、企業は新たに分析の枠組みを協議し、その結果に基づき分析、検証、レポートの作成をするため、先行している分析と同程度の期間が必要である



# 費用対効果評価専門組織意見に対するPhRMAの見解

| 項目                                          | PhRMA見解                                                                                                                    |
|---------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 専門組織における検討内容について                            | 各専門組織会合で企業が不服意見の提出できる体制を維持するべきであり、また不服意見に対して適切にフィードバックしていただきたい                                                             |
| 分析対象集団の一部が分析不能とされた場合の取扱いについて                | 製品に関する重要な臨床試験データが使えないため分析不能となるケースなど、そもそもの分析対象集団の分け方を改善することも必要である                                                           |
| 分析期間超過時の価格調整における取扱いについて                     | 合意された分析の枠組みに基づく企業分析期間を少なくとも6か月確保することが前提として対応いただきたい                                                                         |
| 分析対象集団の規模が小さくなる場合の取扱いについて                   | 過去、分析対象集団の規模が小さくなった事例があったが、分析前協議の段階で、外部専門家（臨床専門家・医療経済専門家）を必要に応じて同席させることにより、分析対象集団の規模が小さくなりすぎ、分析上の確実性等を損なうことが無いような対応をお願いしたい |
| 比較対照技術に対し効果は同等であり、かつ費用が増加するもの（費用増加）の取扱いについて | 追加的有用性が定量的に評価できないものについてアプレイザルで対応するなどの方法を検討していただきたい                                                                         |
| 薬価算定組織との連携について                              | 費用対効果評価制度が薬価制度と異なる点については同意する。費用対効果評価制度はあくまで薬価制度の補完であるという点に留意して運用していただきたい                                                   |
| 公的介護費の取扱いについて                               | 費用対効果評価に薬剤が持つ多面的な価値を反映させていく必要があると考える。その一環としての推進についてはPhRMAとしても協力したい                                                         |



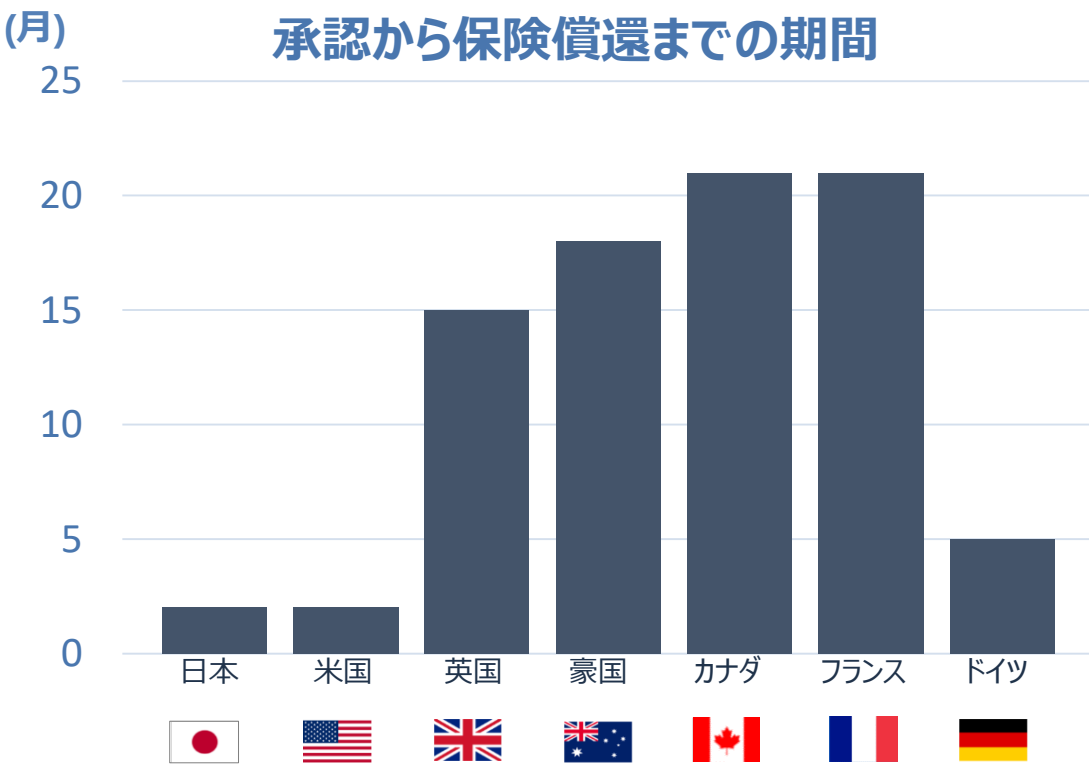
ご清聴ありがとうございました



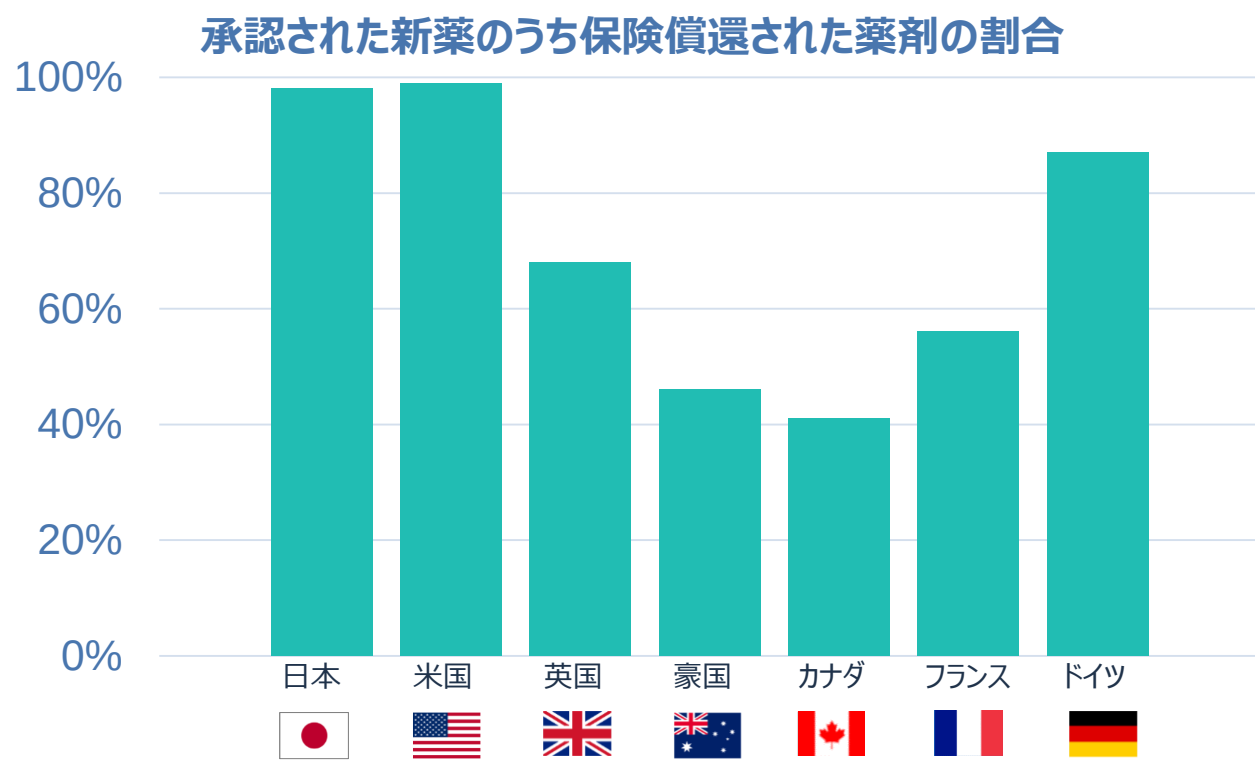
# ■ 諸外国での費用対効果評価の現状

- 米国、ドイツは、HTAを保険償還の判断に使用していない（日本の費用対効果評価も同様）。その結果、これらの市場で発売されたほとんどの医薬品に患者がアクセスできるようになる。
- 一方、英国、豪国、カナダ、フランスは、HTAを保険償還の判断に使用している。その結果、承認から保険償還まで何か月も待たなければならず、またアクセスできる承認薬剤も、はるかに少ない。

## 新薬へのアクセスが遅れている



## アクセスできる薬剤が限られている



\* 日本と米国が100%に満たないのは、全ての承認された薬剤が発売されているわけではないため。

|              |                                                                                                            |
|--------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 会議名          | 費用対効果評価 第3回分析前協議                                                                                           |
| 製造販売業者名      | 〇〇株式会社                                                                                                     |
| 対象品目名        | 〇〇〇                                                                                                        |
| 日時           | 令和〇年〇月〇日（〇曜日）〇:〇～〇:〇                                                                                       |
| 場所           | 〇〇を用いた Web 会議                                                                                              |
| 参加者<br>（敬称略） | 厚生労働省：〇〇、〇〇（医療課）<br>国立保健医療科学院（以下科学院）：〇〇、〇〇、〇〇、〇〇、〇〇、計〇名<br>〇〇株式会社（以下〇〇）：〇〇、〇〇、〇〇、〇〇、計〇名<br>事務局：〇〇          |
| 議題           | 1. 企業が提案する費用対効果評価の分析枠組み<br>2. 公的分析による企業提案への見解<br>3. 公的分析が提案する費用対効果評価の分析枠組み<br>4. 企業による公的分析提案への見解<br>5. その他 |
| 配布資料（配布元）    | 資料 1：第 1 回分析前協議出席者リスト（製造販売業者名）<br>資料 2：品目名 費用対効果評価 第 1 回分析前協議（製造販売業者名）<br>資料 3：第 1 回分析前協議票（製造販売業者名）        |

結論

- 費用対効果評価の分析枠組みについて
  - 製造販売業者および公的分析より分析枠組みについて案が提示され、下記は合意された。
    - ・ 比較対照技術を AAAA および BBBB とすること
  - 下記は合意に至らなかったため、次回会議で再度検討する
    - ・ 患者集団（企業は a, b の 2 集団、公的分析は A～D の 4 集団
    - ・ 資料データ（企業は a,b の 2 試験、公的分析は A, B, X,Y の 4 試験）
- その他
  - 第 4 回以降の分析前協議の日程について、別途事務局を通じて時間の調整を行うこととする。

討議内容

- 企業が提案する費用対効果評価の分析枠組み

|        | 患者定義   | 比較対照技術 | 使用データ |
|--------|--------|--------|-------|
| 患者集団 a | aaaaaa | aaaaa  | 試験 a  |
| 患者集団 b | bbbbbb | bbbbbb | 試験 b  |

患者集団の選択理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

比較対照技術の選択理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

使用データの理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

- 科学院による企業提案への見解

患者集団について：XXXXXXXXXXXXXXXX という理由により不適切である。

比較対照技術について：XXXXXXXXXXXXXXXX という理由により適切である。

使用データの理由：XXXXXXXXXXXXXXXX という理由で XXXXXX に変更すべきである

- 科学院が提案する費用対効果評価の分析枠組み

|        | 患者定義 | 比較対照技術 | 使用データ |
|--------|------|--------|-------|
| 患者集団 A | AAAA | AAAA   | 試験 a  |
| 患者集団 B | BBBB | BBBB   | 試験 b  |
| 患者集団 C | CCCC | CCCC   | 試験 X  |
| 患者集団 D | DDDD | DDDD   | 試験 Y  |

患者集団の選択理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

比較対照技術の選択理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

使用データの理由：XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

- 企業による科学院提案への見解

患者集団について：XXXXXXXXXXXXXXXX という理由により不適切であり同意できない

比較対照技術について：XXXXXXXXXXXXXXXX という意見を受け入れる

使用データの理由：XXXXXXXXXXXXXXXX という理由で XXXXXX に変更すべきであるという意見には同意できない

以上

議事録には下記を記載いただきたい

- 企業が提案する費用対効果評価の分析枠組み
- 公的分析による企業提案への見解
- 公的分析が提案する費用対効果評価の分析枠組み
- 企業による公的分析提案への見解

また、それぞれの項目について下記を明確に記載いただきたい

- 合意事項・合意に至らなかった事項
- 患者集団、比較対象技術、使用データの選択理由やそれに反対する理由

その他の議事録に関する要望

- 議事録は協議終了後、速やかに送付してほしい。あるいは、議事録については企業で作成し、C2Hと協議できるようにしてほしい。
- 専門組織の議事録についても速やかに送付いただくことにより、企業としての準備を進めることが出来る。