

# 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 >

EFPIA Japan (欧州製薬団体連合会)

2021年8月4日

- ❖ 日本政府が費用対効果評価制度を「保険償還の可否の判断には用いない」<sup>1</sup>として  
いることを歓迎します。
- ❖ 費用対効果評価制度は、薬価制度を補完するものとして、薬価制度において算定  
された有用性加算の妥当性検証とイノベーション評価を行う基本方針が守られるべ  
きと考えています。
- ❖ 費用対効果評価制度では、制度設計及び品目評価において多様なステークホルダ  
ーが政策決定プロセスに関与することが必要だと考えています。
- ❖ 日本においては、HTAにおける経済分析手法の一つである費用対効果評価を用  
いた評価品目が少なく、制度全般の改革は時期尚早であるものの、運用面での改  
善は必要と考えます。
- ❖ HTAの真の目的である「患者を中心とした、安全で効果的な、最良の価値を達成し  
ようとする医療政策の策定に役立てる」<sup>2</sup>ことを達成するため、その決定の事後検証  
を可能とする中立的(科学的根拠)で信頼性(透明性と予測可能性)が高い制度と  
なるよう、本格導入で経験したこと、他の諸国からの教訓を共有し、共に検討してい  
きたいと考えています。

1. 「評価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うえで価格調整に用いる」(第130回社会保障審議会医療保険部会 参考資料1(令和2年9月16日))とされている。;  
<https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/000672615.pdf>

2. EuneHTA definition “Health technology assessment is a multidisciplinary process that summarises information about the medical, social, economic and ethical issues related to the use of a health technology in a systematic, transparent, unbiased, robust manner. Its aim is to inform the formulation of safe, effective, health policies that are patient focused and seek to achieve best value.”; <https://www.who.int/health-technology-assessment/about/Defining/en/>

## 現状

## 臨床的視点

- 追加的有用性の定義や部分集団の設定などで、医療の実態を反映する上で不可欠な臨床的観点が十分に考慮されていない<sup>1</sup>
- 臨床的意義に欠ける部分集団であったことが、患者割合に関する公表論文が存在しなかった理由でもあった

## 社会・倫理的視点

- 社会的、倫理的な考慮および中・長期的視点での間接的な経済的効果なども反映できる方法で医薬品の価値評価が行われていない
- 新型コロナウイルス感染症の流行による社会経済への甚大な影響を踏まえると、医薬品がもたらす社会的・倫理的な考慮を価値評価の対象に含めることの重要性は明確<sup>2</sup>

## EFPIAの提案

- 医療経済性の視点に偏ることなく、臨床的な視点を適切に考慮できるよう、当該疾病の診療を実際に行う臨床専門家を積極的に関与させる
- 部分集団の分析は、臨床的に差異が認められる場合に限定した上で、やむを得ない場合にのみ実施する

- 患者さんや当該疾病領域の臨床専門家を含む複数のステークホルダーによる包括的な評価を行う
- 患者さんにとっての利便性などICERに含まれない価値を十分に考慮する
- 本来の価値評価のための総合的評価(アプレイザル)を実施する<sup>3</sup>。医師や患者等が参画してアプレイザルができる専門組織体制を整備したうえで、企業の意見を聞く機会を設ける

1. 欧州製薬団連合会 (EFPIA Japan). (2021, April 20). 費用対効果評価制度に対する提言. [http://efpia.jp/link/04202021\\_EFPIA\\_Press\\_Release\\_Access\\_Committee\\_Standby\\_Statement\\_J.pdf](http://efpia.jp/link/04202021_EFPIA_Press_Release_Access_Committee_Standby_Statement_J.pdf)

2. 相徳泰子. (2021). 3. ワクチン・治療薬の価値評価: COVID-19パンデミックからの学び. 薬剤疫学, 26(1), 71-78.

3. 中医協費用対効果評価専門部会・薬価専門部会・保険医療材料専門部会 合同部会. (2019, February 6). 関係業界からの意見聴取について. 厚生労働省.

[https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220\\_00011.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220_00011.html)

# 制度の透明性と一貫性の確保、 科学的妥当性の向上が重要と考えます

## 現状

## EFPIAの提案

### 記録と 透明性

分析前協議の内容が詳細に記録されておらず<sup>1</sup>、合意事項が不明だった

詳細な議事録の作成と企業への迅速な共有、企業秘密が守られた上での議事録公開を通じた透明性確保

### 品目選定

- ・希少な疾患<sup>2</sup>に対する医薬品が評価対象品目に選定されており、指定難病等に対する医薬品開発の意欲が削がれる可能性がある
- ・類似品目(H5区分)に対する自動的な価格調整は科学的ではない

- ・指定難病等の希少疾患除外原則の徹底(新薬及び既存薬を含む)
- ・希望すれば、企業が類似品目(H5区分)に対する費用対効果分析等を実施できる制度への見直し

### 追加適応

- ・追加適応に対する費用対効果評価は、追加適応に対する有用性加算が存在しない薬価制度と矛盾する
- ・追加適応に対する開発意欲が削がれる可能性がある

追加適応に対する費用対効果評価の除外

### 分析期間

企業の分析期間を一律に9カ月とするのは実態を反映していない<sup>1</sup>

分析前協議が完了する時点で評価対象品目ごとに企業側の分析期間を調整する制度への見直し

### 価格引き上げ条件

「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること」<sup>3</sup>とするドミナントにおける価格引き上げ調整の条件が科学的ではない

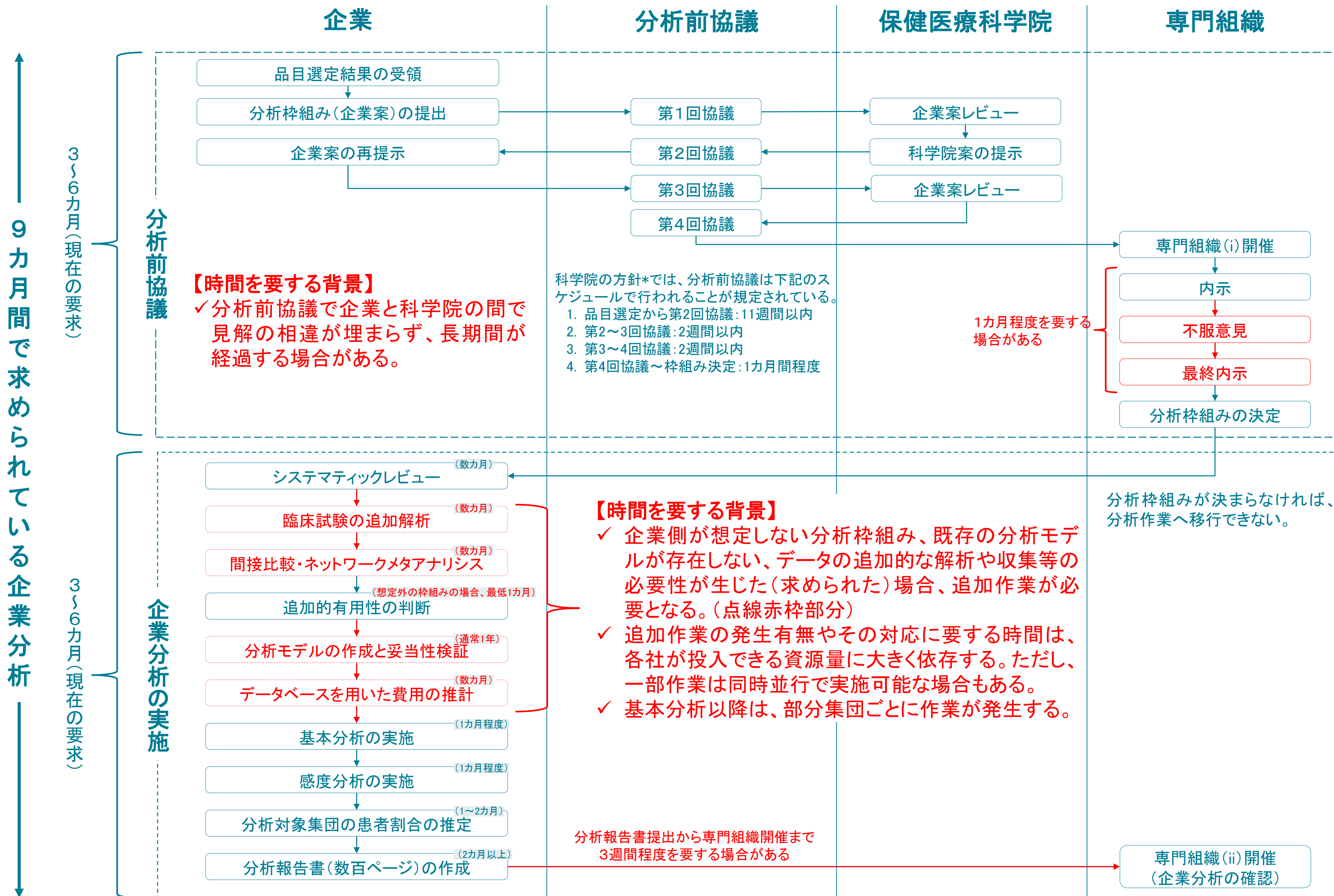
薬理作用の一致・不一致等を条件としないドミナントによる価格引き上げ調整への見直し

1. 欧州製薬団連合会 (EFPIA Japan). (2021, April 20). 費用対効果評価制度に対する提言. [http://efpia.jp/link/04202021\\_EFPIA\\_Press\\_Release\\_Access\\_Committee\\_Standby\\_Statement\\_J.pdf](http://efpia.jp/link/04202021_EFPIA_Press_Release_Access_Committee_Standby_Statement_J.pdf)

2. 費用対効果評価制度では、「治療方法が十分に存在しない希少な疾患(指定難病、血友病及びHIV感染症)」とされている。 [https://c2h.niph.go.jp/tools/system/overview\\_ja.pdf](https://c2h.niph.go.jp/tools/system/overview_ja.pdf)

3. 中医協総会. (2021, February 10). 中医協 総-9 費用対効果評価制度の当面の運用について. 厚生労働省. <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000736552.pdf>

# 企業分析は分析枠組みが決定しなければ開始できない 想定外の分析枠組みでは、一律に6カ月で完了することは不可能



\*「医薬品・医療機器の費用対効果評価における分析前協議について」<2021.7.6 (一部修正)> ; [https://c2h.niph.go.jp/tools/system/preliminary\\_consultation.pdf](https://c2h.niph.go.jp/tools/system/preliminary_consultation.pdf)

- ❖ 日本の患者さんのイノベーションへのアクセスを守るため、医薬品の価値が適切に評価され、従来の薬価制度を補完するものとしての費用対効果評価制度が実行されるよう、EFPIAは引き続き日本政府および関係するステークホルダーと対話を続けていくことを求めます。
- ❖ 患者さんを第一に考え、単に薬剤費の削減だけを目的とするような制度ではなく<sup>1</sup>、イノベーションが適切に評価されることを主眼に置いた最適な医療制度の構築が必要であると考えています<sup>2</sup>。
- ❖ 中医協で合意された「制度の基本的考え方」で示す対象技術（希少な疾患を対象としない）と結果活用（保険償還の判断に用いない）の原則<sup>3</sup>が守られることが重要と考えています。

1. 平成24年7月18日の中医協費用対効果評価専門部会において、迫井正深医療課企画官(当時)が「費用と効果両方の観点で評価を行うわけですから、単純に費用を削減する、医療費削減をするというような趣旨での評価ではございませんので、そのことについても明記をさせていただいております」と述べ、費用対効果評価制度の導入にあたっての「制度の基本的考え方」を説明している。  
<https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002inw5.html>

2. 「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」(平成 28年 12月 20日)では、「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」を両立した上で、「費用対効果の高い薬には薬価を引き上げることを含め費用対効果評価を本格的に導入すること等により、真に有効な医薬品を適切に見極めてイノベーションを評価し、研究開発投資の促進を図る」とされている。  
<https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-Hokenkyoku-Iryouka/0000146567.pdf>

3. 中医協費用対効果評価専門部会. (2012, July 18). 中医協 費-2 制度の基本的考え方について. 厚生労働省. <https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002f163-att/2r9852000002f1a0.pdf>; 対象技術に関しては、患者数が少なく、研究開発の費用などを割り返す際に費用が高額とならざるを得ないほか、対象患者が少なく、財政影響は小さいと考えられる希少な疾患を対象としないことで合意している。結果の活用に関しては、「費用対効果評価の結果のみをもって保険収載の可否や償還価格を判定・評価するものではない。また、費用対効果評価の結果の判定の目安等についても、一定の柔軟性を持ったものとし、硬直的な運用を避けるものとする。」「費用及び効果の双方の観点からの評価を行うものであり、費用の観点のみの評価を行うものではない。」などとしている。