

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11月12日

前回の意見陳述におけるPhRMAの意見

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

中医協の議論に対するPhRMAの意見

2-1-1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

- 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、また不服意見に対する適切なフィードバックを頂きたい。
- 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か月は確保して頂きたい。

2-1-5. 効能追加時の取扱いについて

- 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。

2-2-1. 費用増加の場合の取扱いについて

- 追加的有用性有無の判断における方法の妥当性をご考慮頂きたい。
- 費用増加となった場合の価格調整係数については、総合的評価において、各医薬品の特徴に基づいて個別に最終判断されることを希望する。

各専門組織会合における不服意見提出

2-1-1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

論点： 不服意見の機会を確保するため、企業から不服意見書が提出され、専門組織が会議の開催の必要性を認めた場合に、不服意見の聴取を行うことができることとする。

専門組織（ i 、 ii 、 iii ）において不服意見を提出できる機会の維持と、企業が提出した不服意見に対するフィードバックを頂きたい

- これまでに評価が完了した医薬品において、ガイドラインの要件を満たさない解析が実施された例が存在していたことから、今後も不服意見を提出できる機会を維持頂きたい。
- 現行の専門組織においては、企業は10分間の意見陳述と質疑応答のみであり、厚生労働省・国立保健医療科学院、公的分析、製薬会社間における議論はできていない状況である。

参考) NICEにおけるアプレイザル^{1,2}

英国NICEにおいては、それぞれのステージにおいて各ステークホルダー（NICE、公的分析、製薬企業等）が議論を実施する場が与えられている。アプレイザルは、多くの医薬品で2回以上実施されており、アプレイザル参加メンバーは最終的な結論に異論がある際には再度のアプレイザルを要請することが出来る。アプレイザルでは、公的分析結果と企業側分析結果のどちらが正しいかを判断する場ではなく、双方の分析を参考にしつつ科学的に妥当なシナリオを選択して結論を出すため、両者の主張の中間的なシナリオが最終的に使われることも多い。又、Appraisal Committeeの必須メンバーとして業界の代表者も参加している。

企業の分析期間

2-1-1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

論点： なお、それぞれの期間は、引き続き、企業分析は9か月（270日）以内、公的分析は6か月（180日）以内（企業分析の検証のみの場合は3か月（90日）以内とする。

「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か月は確保して頂きたい（分析前協議と企業分析期間合わせて9か月ではなく）

- 1つの薬剤であっても、分析の枠組みの決定次第で、複数の解析が必要になることがある。
- 分析の枠組みによって、臨床試験データの再解析、NDBの使用など数か月単位で時間を要する作業が存在する。

2-2-2. 分析期間超過時の取扱いについて

論点： 価格調整に当たって、分析期間を超過した場合には、事前に企業に対して遅れた理由を確認した上で、その理由が妥当性を欠く場合については、最も小さな価格調整係数を用いることとしてはどうか。

分析期間を超過した際の妥当性に欠く例を挙げて頂き、Q&Aなどに掲載頂きたい

- 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。

効能追加について

2-1-5. 効能追加時の取扱いについて

論点： 分析枠組みの決定前に効能追加がなされた場合には、原則として、追加された効能を含めて分析枠組みを決定することとしてはどうか。

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して考えて頂きたい

- 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る。
- 分析の枠組み決定後に効能追加がなされた場合には、分析に追加しない中医協案に賛同する。

対象とする場合でも、限定的にして頂きたい

- 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。

効能追加の対象となった際に、分析の枠組みに基づく企業分析の期間は少なくとも6か月は確保して頂きたい

- 効能が異なれば、データやモデルを安易に再利用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。

「効果同等」の判断基準について

2-2-1. 費用増加の場合の取扱いについて

論点： 価格調整に当たって、効果が同等で費用が増加する場合（費用増加）については、最も小さな価格調整係数を用いることとしてはどうか。

効果が同等か否かの前提となる追加的有用性の判断法について、妥当性をご考慮頂きたい。

- これまで、効果同等・費用増加と判断された2種の医薬品で、追加的有用性の評価基準に懸念点がある。
- 総合的評価において、各医薬品の特徴に基づいて個別に最終判断されることを希望する。

医薬品の特徴		評価項目	日本における結果	参考) 英国NICEにおける評価結果
ムルトミス	投与間隔が比較薬と比べて4分の1となり、患者負担の軽減につながるから治療法の改善を可能とした。	追加的有用性	なし	患者、介助者の意見より投与間隔延長による本剤によるQoLの向上を認め、 有用性あり と総合的に判断
		分析手法・比較対照	費用最小化分析	費用効果分析 (投与間隔延長でQOL改善→QALY増加)
		費用対効果	ソリスに対して 効果同等、費用増加	ソリスに対して QALY改善・費用削減
トリンテリックス	新規作用機序を有し、海外のガイドラインにおいて、唯一最高のエビデンスレベルで推奨されており、一定の臨床的有用性がある。	追加的有用性	なし 有効性・うつ状態の改善のみで評価	あり 有効性（うつ状態の改善）はエビデンス不十分も安全性プロファイル（忍容性）は改善を認める
		分析手法・比較対照	費用最小化分析 臨床実態を考慮せず、最も安い単一の比較対照*	費用効果分析 臨床実態を反映した複数の比較対照 (投与継続率の改善で治療応答期間延長→QALY増加)
		費用対効果	効果同等、費用増加	すべての比較対照について 費用対効果に優れるか、Dominant

*ガイドラインでは比較対照薬は、「導入された時点で代替されると想定されるもののうち、治療効果がより高く、臨床現場等において幅広く使用されているもの」と記載

まとめ

- 費用対効果評価は、薬価算定の補完的な仕組みであり、加算の妥当性を評価するシステムであり、今後も本制度の趣旨を逸脱しない運用と改善を望みます。
- 本制度のプロセスの透明性や妥当性は、今後も高めていく必要があり、科学的な議論・判断が行われる仕組みへ改善していくことを望みます。
- PhRMAとして、上記を達成していくために今後も協力をしていきます。



ご清聴ありがとうございました

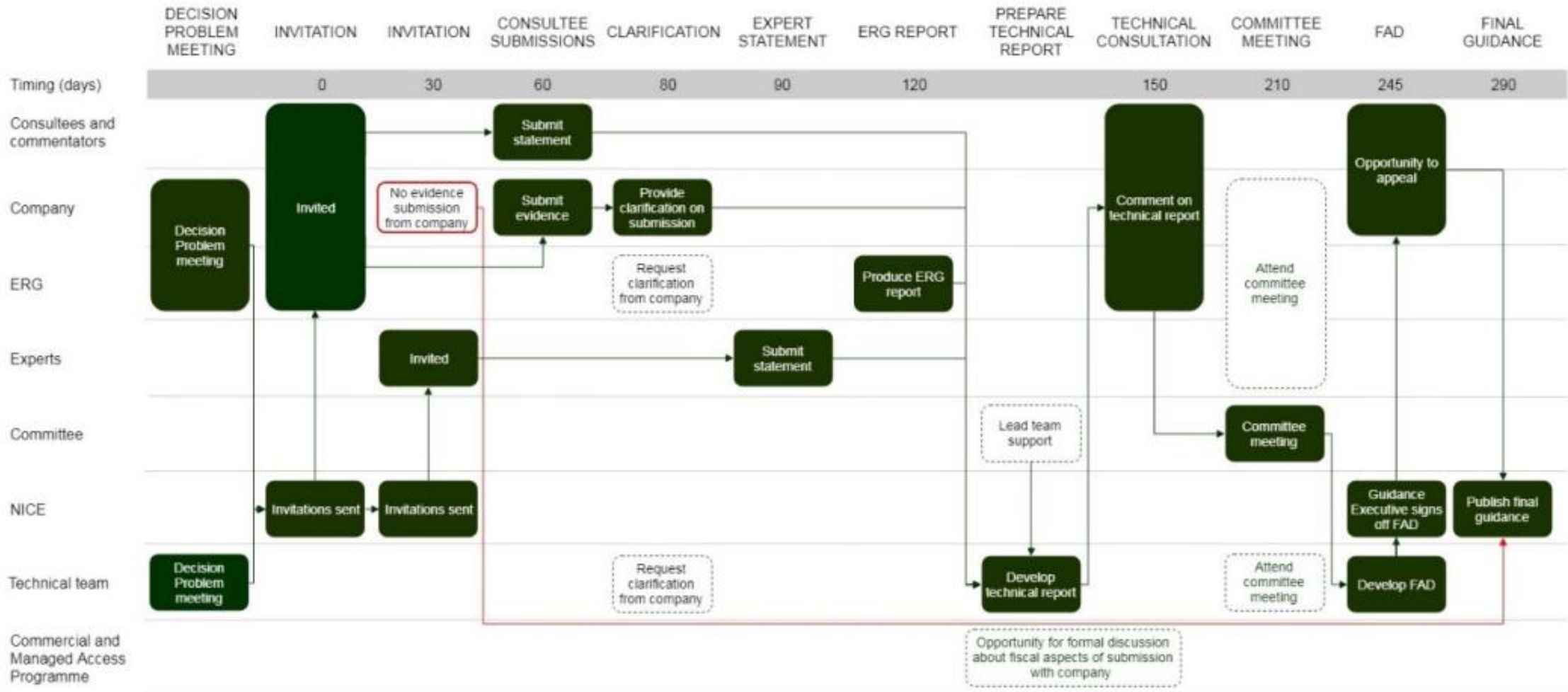
分析プロセスに対するPhRMAの意見

項目	現状	PhRMA提案
分析期間	企業分析期間は一律9か月と設定されているが、分析の枠組み次第で、複数の解析が必要になることや、臨床試験データの再解析、NDBの使用など数か月単位の作業が発生するケースが存在している。	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か月確保していただきたい。
専門組織における検討内容	企業は、専門組織（i、ii、iii）において不服意見を提出できる。	解析が完了した各医薬品の結果より、ガイドラインの要件を満たさない例も存在していたことから、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。
分析前協議	第二回の分析前協議から参加者間で承認された臨床の専門医の同席が認められている。	分析前協議の段階で、公的分析の許可の有無に関わらず、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、効率的な議論の実施、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。
効能追加時の取り扱い	薬価算定の際に考慮されていない効能追加においても、評価期間内においては、対象品目として追加される。	当初の費用対効果評価制度の趣旨に反していることから、追加効能時は、費用対効果評価の対象外と考えて頂きたい。中医協で議論されている、分析枠組み決定後の追加効能時における除外案については、改善と認識する。効能追加を対象とすることになった場合でも、主たる効能が変化した場合のみ対象としていただきたい。また、効能追加が対象となった場合には、分析の枠組みに基づく企業分析の期間は同様に少なくとも6か月は確保していただきたい。企業の予見性確保および準備の円滑化の観点から、H3の指定について基準を明確化していただきたい。
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が発出されることを希望したい。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。

価格調整方法の見直しに対するPhRMAの意見

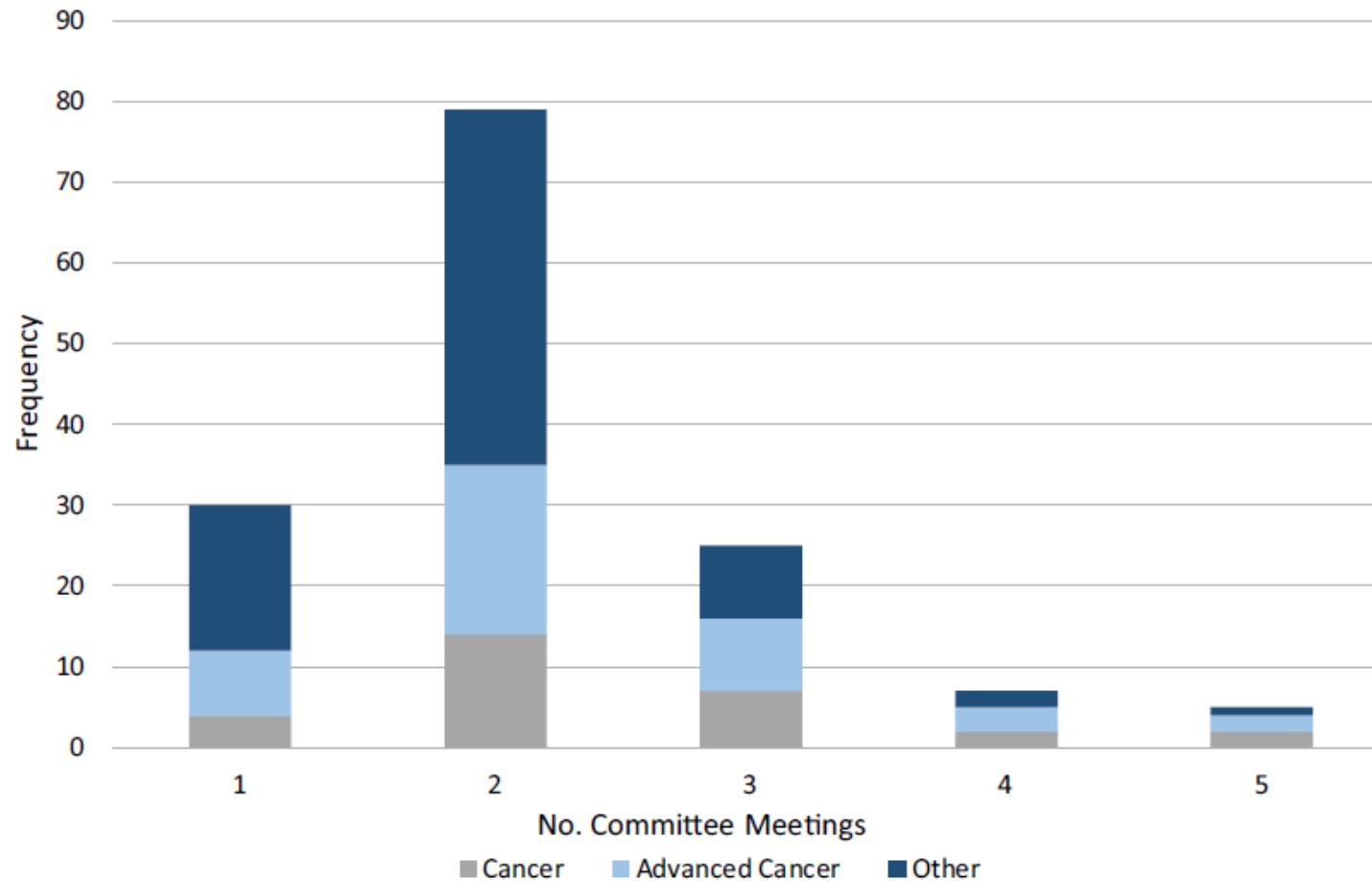
項目	現状	PhRMAの意見
効果同等・費用増加、Dominantの扱い	効果同等・費用増加と判断された薬剤に対しては、最も小さな価格調整係数が適用されており、Dominantと判断された薬剤は、価格引き上げ調整の条件が著しく厳しい。	これまでの評価において、効果同等・費用増加と判断された2種の医薬品の特徴、効果同等・費用増加と判断された理由は異なることから、一律に最も小さな価格調整係数を適用することに反対する。又、Dominantの際の価格引き上げの反映法について再考頂きたい。
分析期間超過時	分析前協議の結果、複数の解析が必要になること、臨床試験データの再解析、NDBの使用など数か月単位で時間を要する作業が発生するケースが存在した。	分析期間を超過した際の妥当性に欠く例を挙げて頂き、前頁のQ&Aなどに掲載いただきたい
公的介護費の取扱い	現状、基本分析において公的介護費を費用の算定には用いないこととされている。	公的介護費の取り扱いに関して、PhRMAとしても協力したい

例) 英国NICEにおけるアプレイザルのプロセス



英国NICEのアプレイザルは2回以上実施されることが多い

最終判断までのCommittee meetingの開催回数



Walton MJ, et al. *Pharmacoecon Open*. 2019.