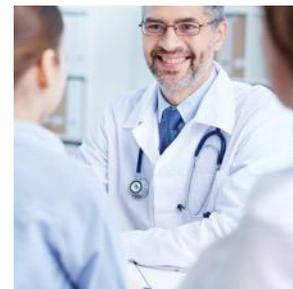


中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会

- 意見陳述資料 -



欧州製薬団体連合会
(EFPIA Japan)
2021年11月12日



費用対効果評価制度に対する基本的立場

- ❖ 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」¹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」²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](https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/000672615.pdf)

2. EUNETHTA 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/](https://www.who.int/health-technology-assessment/about/defining/en/)

分析手法の一つに過ぎない費用対効果評価に限定せず、多様な視点で医薬品の価値を評価する体制構築を求めます。

関連論点¹

薬価算定組織
との連携

費用増加

当会の見解

- * 当会は、費用対効果評価専門組織が「薬価算定組織との連携」を名目に、薬価算定組織による薬価算定に直接または間接的に関与することに懸念を表明します。
- * 当会は、費用対効果評価は薬価制度に対する補完的な位置づけであり、費用対効果評価専門組織が薬価算定組織とは異なる観点（ICERやICER以外の評価基準）で加算の妥当性を検証する制度と認識しています。ユルトミリスの事例が発端であると認識していますが、両組織が異なる観点（価値）から加算を検討するため、結果が異なることを前提に導入されたと認識しています。
- * 当会は、費用対効果評価制度は、費用対効果等の薬価算定組織とは異なる観点で加算を検証し「総合評価」を行い、ドミナントや費用増加を含む価格調整の可否を検討することに合理性があると考えます。
- * 当会は、将来の費用対効果評価結果を念頭に置いた上で薬価算定組織による薬価算定が実施されることを意図または期待²して、費用対効果評価専門組織と薬価算定組織の観点を均一化することを目的に両組織が「連携」するのであれば、費用対効果評価制度の必要性がないと考えます。
- * 当会は、多様な観点から医薬品の価値評価を行う場合、多様なステークホルダーが参画し、費用対効果分析（ICER/QALY）以外の要素も検討して熟議する「アプレイザル」の実施体制構築を中長期的な取り組みとして改めて提案します。

1. 第57回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（令和3年10月15日）https://www.mhlw.go.jp/stf/shingij/0000182080_00008.html

2. 中医協費用対効果専門部会（令和3年10月15日）において、中医協委員による質問「薬価算定組織と費用対効果評価専門組織の判断基準についてですね、情報共有をするという旨の記載がございますが、情報共有したことで、どのような結果が期待されているのか」に対して、厚生労働省側は「事務局として想定しておりますのは、例えばでございますけれども、薬価算定の際に評価されたデータや観点を理解した上で、費用対効果評価専門組織で分析枠組みや総合的評価はできるというふうに期待できるのではないかと考えております。また同様に、費用対効果評価に際しまして、どのように評価されるのかということをご理解いただいた上で、薬価算定組織におきまして薬価算定ができるのではないかと期待しているところでございます。」と回答。

国立保健医療科学院を含む体制強化を通じた各課題の解決を求めます

関連論点^{1,2}

体制強化

分析前協議

分析集団

患者割合

分析期間の超過

当会の見解

- * 費用対効果評価制度における課題の多くは、国立保健医療科学院(科学院)を含む同制度プロセス全体における質的及び量的な体制強化を通じた分析前協議の充実によって解決されると考えます。
- * 当会は、各課題の背景として、分析前協議において企業側が臨床試験や臨床実態等を踏まえて事前想定した分析枠組み案に対し、科学院側から科学的妥当性に懸念を抱くような要求があったと認識しています。
- * 分析前協議においては、臨床専門家等の早期参画による分析集団の検討、査読論文や公的資料等の公開資料(企業の知的財産権等が発生する市場調査等に依らない)に基づく臨床的・科学的に意義のある患者割合の検討などを可能とする体制が必要と考えます。
- * 上記のような科学院を含む体制強化を通じた分析前協議の効率化や科学的妥当性の高い分析枠組みの決定を図らずに、標準的な分析期間の順守のみを求めることに懸念を表明します。
- * 診療側委員ご指摘²の通り、標準的な分析期間を超過した際に最も小さな価格調整係数を用いた価格調整が行われる場合には、企業側にとって「かなりのペナルティ」になる可能性があります。公益側委員ご指摘²も踏まえ、当該価格調整係数の水準の妥当性や根拠に関して透明性の高い意思決定を求めます。
- * 支払側委員ご指摘³の通り、分析前協議が終了した時点での品目ごとに企業分析の実施期間を決定する制度運用を改めて提案します。

1. 第56回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会(令和3年9月15日) [HTTPS://WWW.MHLW.GO.JP/STF/SHINGI2/0000182080_00007.HTML](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000182080_00007.html)

2. 第57回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会(令和3年10月15日) [HTTPS://WWW.MHLW.GO.JP/STF/SHINGI2/0000182080_00008.HTML](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000182080_00008.html)

費用対効果評価の分析対象品目の明確化を求めます

関連論点¹

評価終了後の再評価プロセス

効能追加

当会の見解

- * 当会は、H3区分及び効能追加の取扱いの見直しに際して、費用対効果評価の対象品目の明確化を求めます。
- * 当会は、H3区分の該当性基準を海外評価機関での評価結果等を参考に定めることについて、既存のH3区分の該当性基準から逸脱する可能性があるため懸念を表明します。
- * 当会は、まずは、H3区分の該当性基準に関して、「著しく単価が高い品目、すでに費用対効果評価を行った品目のうち、評価終了後に評価に大きな影響を与える知見が得られ、再評価が必要であると認められた品目など、優先的に検証することが必要と中医協総会が判断した品目」といった曖昧な既存要件の明確化を求めます。企業側が該当性を予見できる基準へ改善されることを求めます。具体的には、効能追加や単価を要件とするのではなく、ピーク時売上高が1000億円を超える場合を要件にすべきと考えます。
- * 当会は、追加効能の費用対効果評価の対象から除外することを改めて求めます。効能・効果が追加されるたびに薬価が見直される可能性のある費用対効果評価が行われれば、適応範囲の拡大に向けた企業の開発意欲が削がれる可能性があります。
- * 当会は、指定難病を含む希少な疾患を費用対効果評価から除外する原則の徹底を改めて求めます。

公的介護費を含むICER以外の手法による医薬品の価値評価を求めます

関連論点¹

介護費用

費用増加

当会の見解

- * 当会は、ICER以外を用いて医薬品の価値評価を行う公的介護費の取扱いが前向きに検討されることを歓迎します。ただし、医薬品の価値として、財政削減効果や労働生産性の向上、患者さんの自己負担軽減なども検討できることから、**公的介護費に限定しない手法**の研究を希望します。
- * 本邦の費用対効果評価制度における実際の「効果同等で費用増加」の事例では、薬価算定組織と費用対効果評価専門組織における当該薬剤の追加的有用性を評価する観点が異なったためである¹ことから、当会は**ICER以外の手法で医薬品の価値を評価する体制作り**が求められているものと認識しています。
- * 費用対効果分析を中心とする英国NICEにおいてもRecommendationを下す際は、ICERだけではなく、社会的価値判断(SVJ)や特別な事情を個別事例ごとに考慮しており、具体的な品目における実際の評価概要が報告されています。²(参考資料)

1. 第57回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会(令和3年10月15日)[HTTPS://WWW.MHLW.GO.JP/STF/SHINGI2/0000182080_00008.HTML](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000182080_00008.html)

2. RAWLINS M, BARNETT D, STEVENS A. PHARMACOECONOMICS: NICE'S APPROACH TO DECISION-MAKING. BR J CLIN PHARMACOL. 2010 SEP;70(3):346-9. DOI: 10.1111/J.1365-2125.2009.03589.X. PMID: 20716233; PMCID: PMC2949905.

まとめ

- ＊ 当会は、費用対効果評価制度が薬価制度を補完し、薬価算定組織とは異なる観点で加算やイノベーションを評価する同制度の本来の趣旨から逸脱しない改善を求めます。
- ＊ 当会は、費用対効果評価制度の大幅な見直しを目的としない今回の制度検証において、国立保健医療科学院を含む体制強化が、これまでに指摘された諸課題の解決に最も寄与する取り組みと考えます。
- ＊ 当会は、当会が提案するような取り組みを通じて、費用対効果評価制度における科学的妥当性や透明性の向上が同制度の効率的な運用に寄与すると考えます。

個別論点に対するEFPIAの見解 1/2

論点 ¹	当会の見解
分析期間と不服意見	<ul style="list-style-type: none">費用対効果評価の科学的妥当性を向上させるためにも企業側の不服意見の機会は可能な限り確保されるべきと考えます。今回の見直しによって従来と比べて不服意見の機会が減少しないよう求めます。英国NICEにおいては、企業側に異論がある場合はAppealすることが認められている。
分析前協議	<ul style="list-style-type: none">臨床専門家の参画が分析前協議の改善に寄与することが認められたことを歓迎します。今後は臨床専門家に限定せず、医療経済専門家等も積極的に分析前協議に参画し、同協議の質的改善と効率性の向上がさらに図られることを求めます。
分析集団	<ul style="list-style-type: none">過度に細分化されたり、科学的に意味のない分析対象集団を除外することの意義が理解されたことを歓迎します。
評価終了後の再評価プロセス	<ul style="list-style-type: none">H3区分の該当性基準を海外評価機関での評価結果等を参考に定めることについて、既存のH3区分の該当性基準から逸脱する可能性があるため懸念を表明します。まずは、H3区分の該当性基準に関して、「著しく単価が高い品目、すでに費用対効果評価を行った品目のうち、評価終了後に評価に大きな影響を与える知見が得られ、再評価が必要であると認められた品目など、優先的に検証することが必要と中医協総会が判断した品目」といった曖昧な既存要件の明確化を求めます。具体的には、効能追加や単価を要件とするのではなく、ピーク時売上高が1000億円を超える場合を要件にすべきと考えます。
効能追加	<ul style="list-style-type: none">追加効能の費用対効果評価の対象から除外することを改めて求めます。効能・効果が追加されるたびに薬価が見直される可能性のある費用対効果評価が行われれば、適応範囲の拡大に向けた企業の開発意欲が削がれる可能性があります。

個別論点に対するEFPIAの見解 2/2

論点 ¹	当会の見解
費用増加	<ul style="list-style-type: none"> 本邦の費用対効果評価制度における実際の「効果同等で費用増加」の事例では、薬価算定組織と費用対効果評価専門組織における当該薬剤の追加的有用性を評価する観点が異なったためであることから、当会はICER以外の手法で医薬品の価値を評価する体制作りが求められているものと認識しています。
分析期間の超過	<ul style="list-style-type: none"> 診療側委員ご指摘¹の通り、標準的な分析期間を超過した際に最も小さな価格調整係数を用いた価格調整が行われる場合には、企業側にとって「かなりのペナルティ」になる可能性があります。公益側委員ご指摘¹も踏まえ、当該価格調整係数の水準の妥当性や根拠に関して透明性の高い意思決定を求めます。 支払側委員ご指摘¹の通り、分析前協議が終了した時点での品目ごとに企業分析の実施期間を決定する制度運用を改めて提案します。
患者割合	<ul style="list-style-type: none"> 国立保健医療科学院を含む体制強化を通じて、分析前協議の段階で査読論文や公的資料等の公開資料（企業の知的財産権等が発生する市場調査等に依らない）に基づく臨床的・科学的に意義のある患者割合の検討などを可能とする体制が必要と考えます。
介護費用	<ul style="list-style-type: none"> 公的介護費の取扱いが前向きに検討されることを歓迎します。ただし、医薬品の価値として、財政削減効果や労働生産性の向上、患者さんの自己負担軽減なども検討できることから、公的介護費に限定しない手法の研究を希望します。 本邦の費用対効果評価制度における実際の「効果同等で費用増加」の事例では、薬価算定組織と費用対効果評価専門組織における当該薬剤の追加的有用性を評価する観点が異なったためである¹ことから、当会はICER以外の手法で医薬品の価値を評価する体制作りが求められているものと認識しています。
分析体制の強化	<ul style="list-style-type: none"> 費用対効果評価制度における課題の多くは、国立保健医療科学院を含む同制度プロセス全体における質的及び量的な体制強化を通じた分析前協議の充実によって解決されると考えます。 分析前協議においては、臨床専門家等の早期参画による分析集団の検討、査読論文や公的資料等の公開資料（企業の知的財産権等が発生する市場調査等に依らない）に基づく臨床的・科学的に意義のある患者割合の検討などを可能とする体制が必要と考えます。
薬価算定組織との連携	<ul style="list-style-type: none"> 費用対効果評価専門組織が「薬価算定組織との連携」を名目に、薬価算定組織による薬価算定に直接または間接的に関与することに懸念を表明します。 費用対効果評価制度は、費用対効果等の薬価算定組織とは異なる観点で加算を検証し「総合評価」を行い、ドミナントや費用増加を含む価格調整の要否を検討することに合理性があると考えます。 当会は、将来の費用対効果評価結果を念頭に置いた上で薬価算定組織による薬価算定が実施されることを意図または期待して、費用対効果評価専門組織と薬価算定組織の観点を均一化することを目的に両組織が「連携」するのであれば、費用対効果評価制度の必要性がないと考えます。

1. 第57回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（令和3年10月15日）https://www.mhlw.go.jp/stf/shingij2/0000182080_00008.html



European Federation of Pharmaceutical
Industries and Associations



参考資料



欧州製薬団体連合会
(EFPIA Japan)



製品ごとに異なる許容基準値 「特別な事情」や「社会的価値の判断」の適用

Table 1

Application of 'special circumstances' in the appraisal of some products with incremental cost-effectiveness above £30 000 per quality adjusted life year

Topic	ICER ('000s)	Severity	End of life*	Stakeholder persuasion	Significant innovation	Disadvantaged population	Children
Riluzole (motor neurone disease)	38-42	✓	✓	✓			
Trastuzumab (advanced breast cancer)	37.5	✓			✓		
Imatinib (chronic myeloid leukaemia)	36-65	✓			✓		
Imatinib (gastrointestinal stromal tumour)		✓	✓		✓		
Pemetrexed (malignant mesothelioma)	34.5	✓	✓			✓	
Ranizumab (age-related macular degeneration)	>>30			✓	✓		
Omalizumab (severe asthma)	>30	✓		✓	✓		
Sunitinib (advanced renal cancer)	50	✓	✓	✓	✓		
Lenalidomide (multiple myeloma)	43	✓	✓		✓		
Somatotropin (growth hormone deficiency)	n/a			✓	✓		✓
Chronic subcutaneous insulin infusion (childhood Type 1 diabetes)	n/a			✓			✓

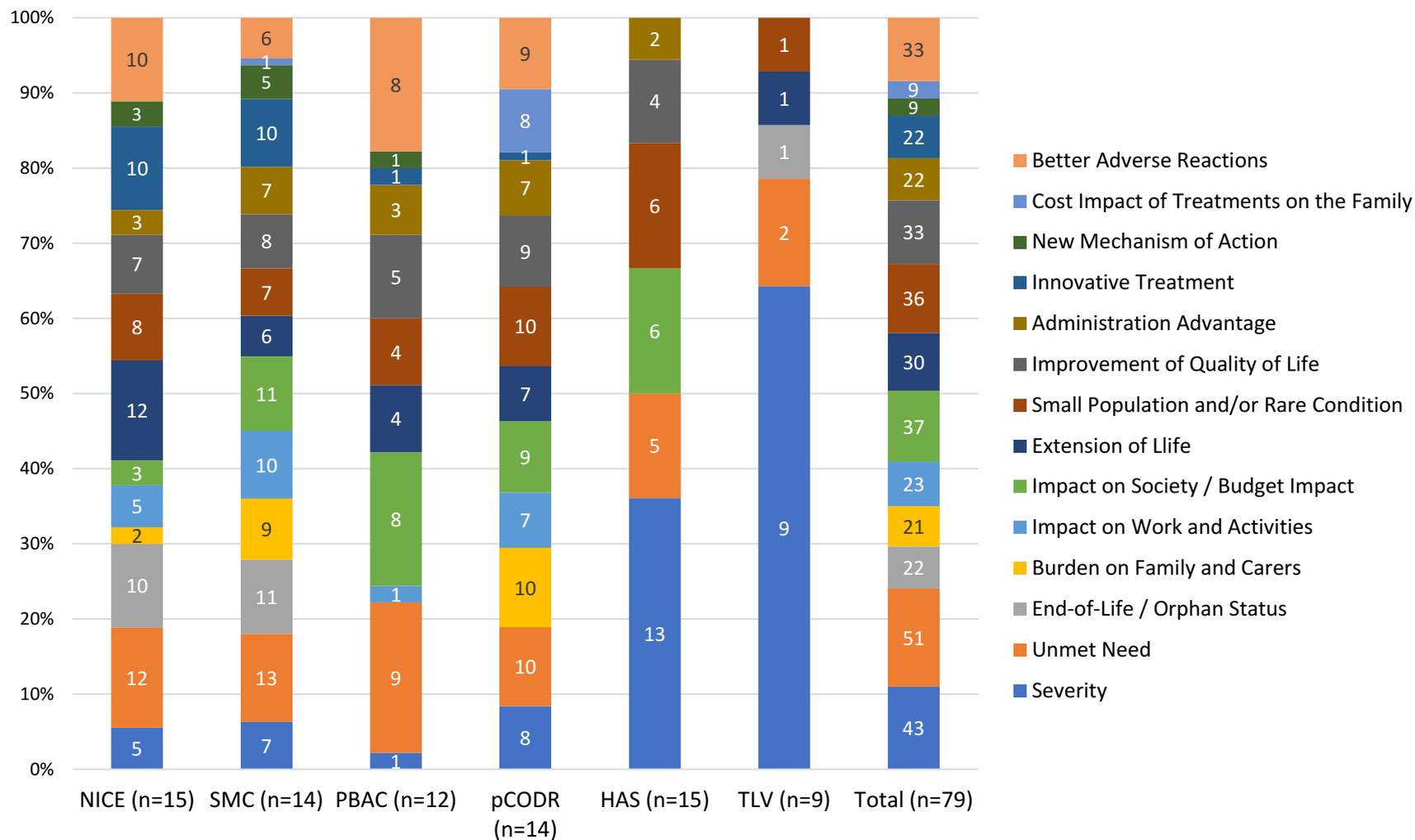
*End-of-life considerations have only been explicitly taken into account since January 2009 on the basis of supplementary advice from the Institute to the Appraisals Committee.
ICER, incremental cost-effectiveness ratio (£ per quality-adjusted life year).

Source: Rawlins, Barnett, Stevens Br J Clin Pharmacol 2010

QALYはツールであって、ルールではない

6つのHTA機関における社会的価値判断(SVJ)の使用について

HTA機関による社会的価値判断の普及率:抗がん剤



HTA機関は、特定の抗がん剤の適用範囲について政府に助言を与えるという観点から、多くのSVJを提起してきた。これらのSVJは、特定の国では意思決定プロセスの一部を構成しているという明示的なものもあれば(例: 英国では終末期、フランスでは重症度、スウェーデンではアンメットニーズ)、他の多くのケースでは暗黙的ではあるが、評価対象の製品の重要な特徴を構成しているために提起されているものもある。