

中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会（第58回）
議事次第

令和3年11月12日(金)9:00～
於 オンライン開催

議 題

○業界からの意見陳述

中央社会保険医療協議会 意見陳述資料

費用対効果評価制度に関する意見

2021年11月12日
日本製薬団体連合会
日本製薬工業協会

令和4年度費用対効果評価制度の見直しについて

- 我が国における費用対効果評価制度は、保険償還の可否の判断に用いるのではなく、薬価基準制度との整合性を踏まえ、新薬の価値評価のあくまで補足的な手法として限定的に用いられるものと認識している。
- 令和4年度診療報酬改定に向けたこれまでの議論においては、費用対効果評価制度の基本的な枠組みを大きく変えず、現在までに公表された事例等から確認された運用上の課題を解決すべくルール見直しを行う方向であり、異論はない。
- 上記の基本認識のもと、今後も臨床的・科学的に妥当な費用対効果評価分析に基づく事例を積み重ねつつ、あるべき制度の構築に向けた検討を進めることに賛同するとともに、引き続きその議論へ積極的に参画していきたい。

個別項目に対する意見 ①

- これまでの費用対効果評価専門部会での論点・議論に大きな異論はない。
- そのうえで、以下について意見を表明する。

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

2 - 1 - 2. 分析前協議について

2 - 2 - 1. 費用増加の場合の取扱いについて

2 - 2 - 2. 分析期間超過時の取扱いについて

その他 比較対照技術に対して費用が削減される品目(Dominant)の扱いについて

個別項目に対する意見 ②

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

中医協 費-1 3.9.15 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。

- 専門組織は、(i)で分析の枠組みが決定され、今回の変更により、(ii)で初めて企業分析と公的分析の結果の双方を検証し、(iii)で総合的評価を行うこととなる。それぞれにおいて企業が想定していない内容となることがあると考えられる。
- 最終的な費用対効果評価の決定は中医協で行われる。その前に開催される専門組織では、企業の希望に基づき不服意見の聴取を行っていただきたい。
- 企業の不服意見も十分に考慮したうえで専門組織で議論され、妥当な総合的評価が行われることが望ましい。

個別項目に対する意見 ③

2-1-2. 分析前協議について

中医協 費-1 3.9.15 論点

分析枠組みに係る協議を迅速かつ適切に実施する観点から、1回目の分析前協議から、企業及び公的分析側の合意が得られた場合には、臨床の専門家等の参加を可能とすることとしてはどうか。

- 分析前協議では、国立保健医療科学院と企業が、分析の枠組みについて十分に議論を行い、双方が納得したうえで分析を実施することが重要である。そのためには1回目の分析前協議から企業の要望に応じて臨床の専門家等が参加することは極めて有効であり、賛同する。
- 適切な分析対象集団や比較対照技術の設定につながるよう、分析前協議で充実した議論が行われる運用をお願いしたい。

個別項目に対する意見 ④

- 以下については、個別に適切に判断、又は今後も事例を収集しつつ継続して検討いただきたい。

2-2-1. 費用増加の場合の取扱いについて

- 実際に分析で用いられたアウトカム指標では、利便性向上やQOLの改善等を十分にとらえることができず、追加的有用性の評価が困難なケースがある。
- 費用対効果評価の結果は、新薬の価値評価のあくまで補足的な手法として限定的に用いられるということを踏まえ、費用増加に係る価格調整の在り方について引き続き検討いただきたい。

2-2-2. 分析期間超過時の取扱いについて

- 分析前協議で決定される枠組みが、企業が事前に想定し得ないものである場合に、システマティックレビューや臨床試験の追加解析に時間を要する等のために、定められた期間では分析が終了しないことは依然としてあり得ると考えられる。
- 分析期間超過の理由の妥当性の判断にあたっては個別品目の状況を十分に把握した上で判断いただきたい。

その他. 比較対照技術に対して費用が削減される品目(Dominant)の扱いについて

- 一部の対象集団でDominantとなった場合においては、費用対効果に優れることが示されたということであり、その評価(Dominant)が十分に価格調整に反映される仕組みとされるべきである。
- 引き続き事例を収集しつつ、適切な価格調整への反映のあり方について検討いただきたい。

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

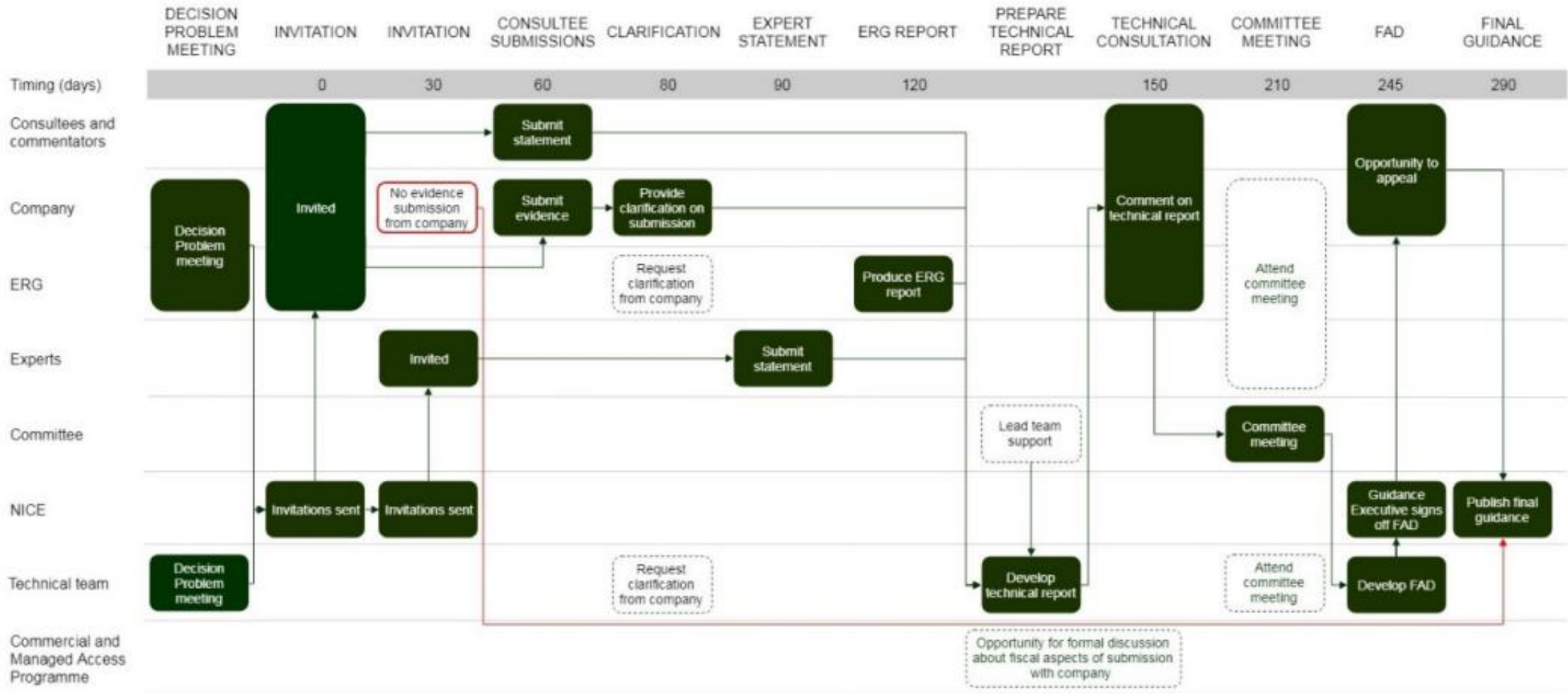
分析プロセスに対するPhRMAの意見

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

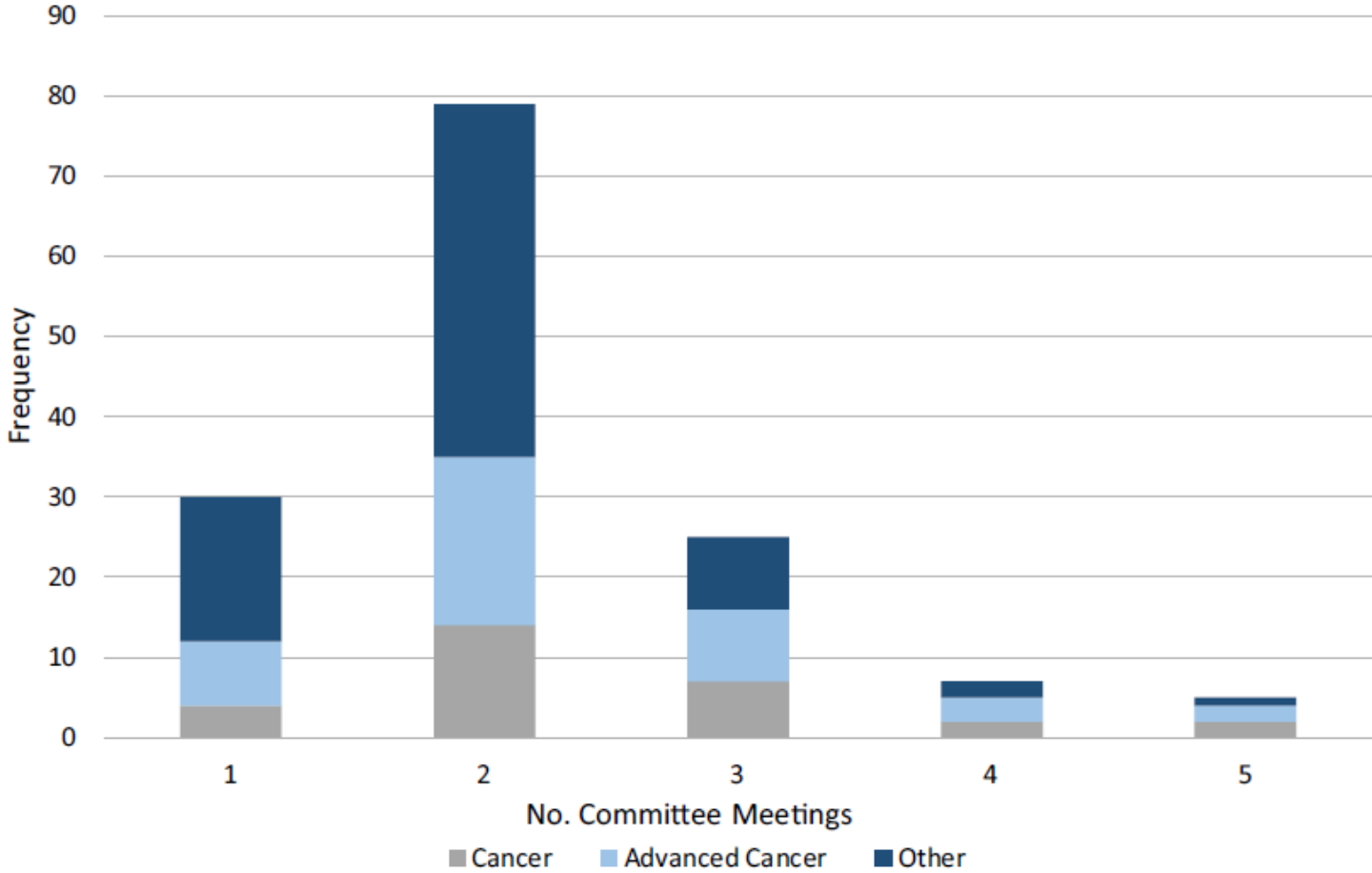
項目	現状	PhRMAの意見
効果同等・費用増加、Dominantの扱い	効果同等・費用増加と判断された薬剤に対しては、最も小さな価格調整係数が適用されており、Dominantと判断された薬剤は、価格引き上げ調整の条件が著しく厳しい。	これまでの評価において、効果同等・費用増加と判断された2種の医薬品の特徴、効果同等・費用増加と判断された理由は異なることから、一律に最も小さな価格調整係数を適用することに反対する。又、Dominantの際の価格引き上げの反映法について再考頂きたい。
分析期間超過時	分析前協議の結果、複数の解析が必要になること、臨床試験データの再解析、NDBの使用など数か月単位で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

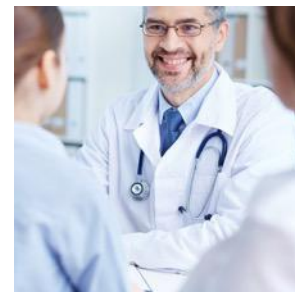


Walton MJ, et al. *Pharmacoecon Open*. 2019.

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。

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)

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。

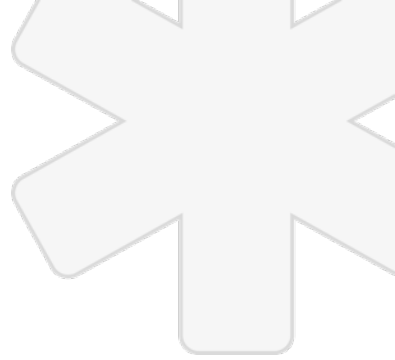
個別論点に対するEFPIAの見解 2/2

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。

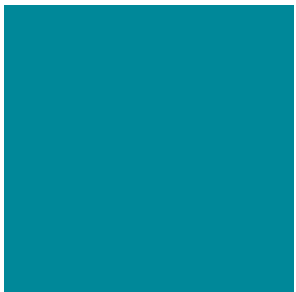
1. 第57回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会（令和3年10月15日）https://www.mhlw.go.jp/stf/shingij2/0000182080_00008.html



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			✓			✓

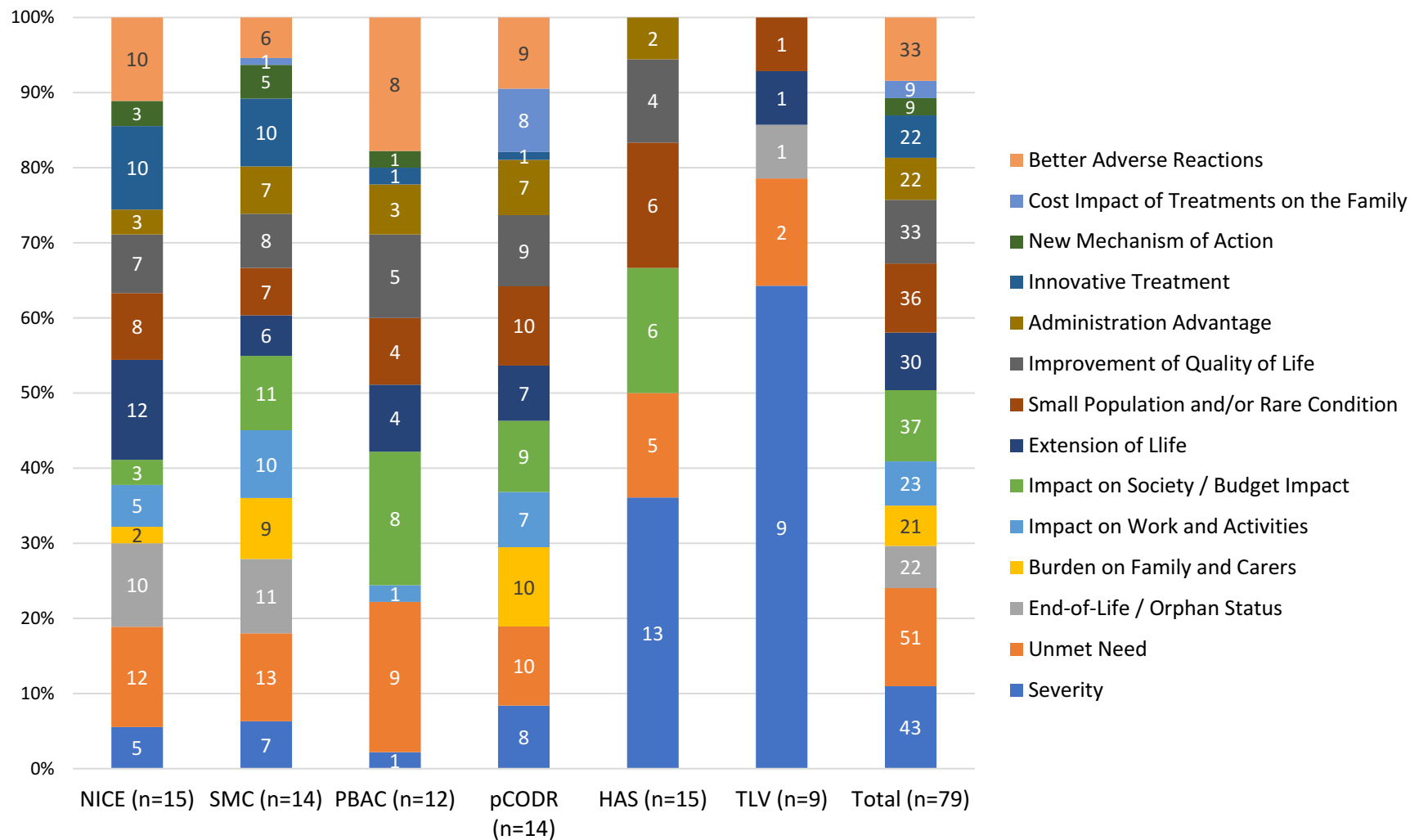
*End-of-life considerations have only been explicitly taken into account since January 2009 on the basis of supplementary advice from the Institute to the Appraisals Committee.
ICER, incremental cost-effectiveness ratio (£ per quality-adjusted life year).

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。

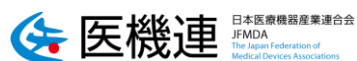
中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会 意見陳述資料 2021年11月12日

日本医療機器産業連合会(JFMDA)

日本医療機器テクノロジー協会(MTJAPAN)

米国医療機器・IVD工業会(AMDD)

欧州ビジネス協会(EBC)医療機器・IVD委員会



日本医療機器産業連合会
JFMDA
The Japan Federation of
Medical Devices Associations



Medical Technology Association of Japan



米国医療機器・IVD工業会
American Medical Devices and Diagnostics Manufacturers' Association



EUROPEAN BUSINESS COUNCIL IN JAPAN

費用対効果評価制度の見直しに対する見解（1/2）

- 専門部会提案において、医療機器の特性に起因する評価上の課題を解決するための対応として先に業界側が提案した3点のうち、**分析枠組みの検討における臨床の専門家等の早期関与**について、ご考慮頂いたことに感謝申し上げます
- 一方で、**ICERに十分に反映されない患者便益を考慮した評価**については、課題解決に向けた検討が十分ではないと思料する（個別項目に対する意見①）
- 専門部会提案は、現在の費用対効果評価制度の基本的な枠組みを維持したうえで運用の改善を目指すものであり、制度設計について大きな異論はないものの、運用にあたっては医療機器の特性に配慮した柔軟な対応をお願いしたい



出所：第1回業界意見陳述資料（2021年8月4日）
p.16「課題解決のための対応」より、評価上の課題と要望について

費用対効果評価制度の見直しに対する見解（2/2）

- 薬価・材料価格制度を補完する日本型の費用対効果制度を円滑に運用するには、企業側の人材育成も重要となる
- 各社の費用対効果担当者が**日本型の費用対効果評価の特性**を正しく理解したうえで、**自社製品の分析で想定される技術的課題や推奨される対応等**について認識しておくことが重要と思料する
- 費用対効果評価の実績が乏しく、相対的に企業規模が小さい医療機器においては、費用対効果分析を円滑に行うための情報収集について、費用対効果評価機関からの情報発信に依拠する部分が多い
- 企業側の人材育成を推進するためにも、「公的分析実施施設からのヒアリングの結果」で示された公的分析結果等の論文化、産学連携、関係学会への周知活動の実施などを通じて、日本型の費用対効果評価制度に関する最新の知見が企業に共有されやすくなることを期待する（個別項目に対する意見②）

個別項目に対する意見①

現状の課題

ICERに十分に反映されない患者便益（費用増加の場合の価格調整方法）

- 薬価収載の際に有用性加算が認められた事例について、費用対効果評価において追加的有用性（健康関連QOL）を評価することが困難とされた事例があった
- ICERに過度に依存する現在の評価体系（価格調整）では、QALYで捉えきれない多面的な価値を反映するのが困難である
 - 低侵襲治療、医療従事者の負担軽減、医師の技術の均てん化、環境負荷の軽減など

意見

- 薬価・材料価格算定時の専門組織における評価について、費用対効果評価において異なる評価基準（健康関連QOL）のみをもって、最も小さな価格調整係数を用いて価格調整を行うことについては再考が必要と考える
- 薬価算定組織との連携の論点でも挙げられているように、有用性系加算等を含めた評価等について情報共有を進めた上で、ICERに十分反映されない患者便益の価格調整方法については、別途検討いただきたい

個別項目に対する意見②

現状の課題

企業側の人材育成（費用対効果評価制度の体制と人材育成）

- 対象企業や公的分析班からの情報開示が通知（参考資料①）によって制限されており、日本型の費用対効果評価の文脈で求められるエビデンス基準や分析の枠組みについて（特に諸外国との違いについて）、企業間で経験・知識が共有されない
- 自社製品の分析で想定される技術的課題や推奨される対応等の情報を事前に得る機会が限定的であることが、分析の枠組みについて分析前協議が長引く一因と推察

意見

- 保健医療経済評価研究センター（C2H）および公的分析実施施設による**経済・臨床学会等における講演**ならびに**企業向け説明会**など、分析における技術的課題や対応等に関する情報提供、ならびに企業担当者の研修の場を定期的に提供いただきたい
 - 当面は年に数回程度実施し、内容に医療機器に特化した説明を盛り込むことを検討いただきたい
 - 想定している事例：医薬品医療機器総合機構（PMDA）役職員が医療機器の審査基準等に関して臨床学会や業界向け研究会等で実施する講演・ワークショップ等（参考資料②）

参考資料①：情報開示に関する現行通知

「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」（抜粋）

- p.3 「製造販売業者は、分析から5に規定する中央社会保険医療協議会総会の決定までの協議及び手続の内容については、公表しないものとする。また、製造販売業者は、5に規定する中央社会保険医療協議会総会の決定までの間は、分析により得たデータ等について公表しないものとする。」
- p.5 「製造販売業者及び製造販売業者の分析と関係のある者は、公的分析班への接触や、公的分析班に対する金品その他の便宜の供与を行ってはならない。」
- p.5 「国立保健医療科学院及び公的分析班は、公的分析において知ることのできた情報について、秘密を保持し、公的分析以外の目的で利用してはならない。」

参考資料②： PMDAによる医療機器の審査基準等に関する講演等の例

講演タイトル	講演者	講演場所等	講演年月
疾患動物を用いた治療的試験研究 ～規制の立場から見た課題と期待～	穴原玲子、医療機器審査第二部	レギュラトリーサイエンス学会 第11回学術大会シンポジウム (Web開催)	2021年9月
The Strategy for Marketing Approval of Medical Device Program in JAPAN 日本におけるプログラム医療機器の製造販売承認戦略 について	穴原玲子、医療機器審査第二部	第101回日本消化器内視鏡学会総会、広島 (Web開催)	2021年5月
医療機器レジストリのデータの信頼性	安部隆佑、医療機器調査・基準部	第47回日本血管外科学会学術総会、名古屋	2019年5月
薬事政策	方眞美、スペシャリスト	東京大学大学院医学系研究科 医療経済政策 学講座「医療価値評価の胎動プログラム」、東京	2018年10月
～臨床評価報告書について (事例中心に) ～	方眞美、スペシャリスト	平成29年度 医療機器の治験・臨床評価等説明 会、東京	2018年2月
PMDAにおける承認審査の効率化・審査期間短縮等 に関する取組みについて (2017)	木下勝美、審議役	第5回中日医療機器審査交流会、北京、中国	2017年12月
脳神経外科領域患者レジストリ研究における規制当 局の役割	根木宏明、医療機器審査第二部	日本脳神経外科学会 第76回 学術総会、名古屋	2017年10月
医療機器治験の試験デザインの現状と課題	方眞美、スペシャリスト	NEXT 医療機器開発シンポジウム ～日本からの 医療機器開発を成功に導くためには～、東京	2017年10月
薬事政策	方眞美、スペシャリスト	東京大学大学院医学系研究科 医療経済政策 学講座「医療価値評価の胎動プログラム」、東京	2017年10月
コンビネーションデバイス審査の基本的考え方	方眞美、スペシャリスト	第3回DIA医療機器開発シンポジウム、東京	2017年4月