

中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会（第66回）  
議事次第

令和5年11月17日(金)  
保険医療材料専門部会終了後～

議 題

○業界からの意見聴取について

## 意見陳述者一覧

日本製薬工業協会会長、日本製薬団体連合会副会長 上野 裕明

米国研究製薬工業協会 在日執行委員会 副委員長 關口 修平

欧州製薬団体連合会 副会長 レオ・リー

一般社団法人米国医療機器・IVD工業会（AMDD）会長 小川 一弥

（敬称略）

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

2023年11月17日

日本製薬団体連合会  
日本製薬工業協会  
米国研究製薬工業協会  
欧州製薬団体連合会

# 令和6年度費用対効果評価制度の見直しに向けて

---

- 我が国における費用対効果評価制度は2019年に制度化され、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整理されたと認識している。
- 今回の価格調整範囲の見直しについては、費用対効果評価の側面から議論されているが、**薬価制度のあり方にも踏み込んでいる**。薬価に係る議論であることから基本となる薬価基準制度との整合性について、**十分に議論を尽くすことが重要**である。
- 一方で、「骨太方針2023」においては「**イノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置**」を推進することで、「**ドラッグラグ・ロスの問題に対応する**」ことが示されている。**その方向性と相反することのないよう**、十分に留意することが必要である。

# 令和6年度制度改革に向けての意見

---

- ① 価格調整範囲のあり方
- ② 再指定時等の運用
- ③ 比較対照技術の設定に係る考え方
- ④ 品目指定時の配慮
- ⑤ 価格引上げ条件
- ⑥ 介護費用の取扱い

# ① 価格調整範囲のあり方

## 中医協資料「論点」

- 高額医薬品における価格調整範囲の見直しについて、
    - 専門組織の意見書において、比較対照技術と評価対象技術の差である費用対効果評価の評価範囲と、価格調整範囲が一致していないこと、
    - 諸外国においては、企業と価格交渉がなされる場合に、費用対効果評価の閾値となる価格が参考とされる場合があること、
    - これまでに費用対効果評価の分析を行い、実績を重ねている。特に、価格調整に当たっては、科学的な確からしさの観点も含め一定の幅に対応できるよう階段方式で行っていること、
- 等から、価格調整のあり方についてどのように考えるか。

## 意見

- 費用対効果評価はあくまで薬価制度を補足する制度であり、現行の対象範囲を維持すべきである。
- 価格調整範囲が薬価本体に割り込むことは、薬価制度のあり方にも踏み込んでおり容認できない。

### 価格調整範囲の拡大に対する個別意見（次項以降参照）

- i. 薬価基準制度と費用対効果評価制度に対する認識
- ii. 価格調整範囲に係る制度化に至る経緯
- iii. 薬価制度の観点における問題点
- iv. イノベーション評価の観点における問題点

# i. 薬価基準制度と費用対効果評価制度に対する認識

## 【基本認識】

薬価基準制度と費用対効果評価制度は異なる制度であり、評価方法、比較する薬剤の選定基準、有用性に係る評価項目が異なる。

	薬価基準制度	費用対効果評価制度
評価方法	様々な要素を考慮し、イノベーションの程度に応じて新薬の薬価を算定する	比較対照技術に対する評価対象技術の費用対効果を評価する[1]
比較する薬剤の選定基準	<p>算定比較薬</p> <p>イ) 効能及び効果                      □) 薬理作用                      ハ) 組成及び化学構造式                      ニ) 投与形態、剤形区分、剤形及び用法</p>	<p>比較対照技術</p> <p>臨床的に幅広く用いられており、評価対象技術によって代替されると想定されるもの[1]</p>
有用性に係る評価項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>新規性（薬理作用）</li> <li>有効性・安全性（臨床上的有効性指標、重篤な副作用の発現状況）</li> <li>治療方法の改善（効果不十分例への効果、標準的治療法、治療効果の速さや持続性、利便性、併用による効果増強、疾患の重篤性）</li> <li>製剤工夫</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>QALY(QOLと生存年数)</li> </ul> <div style="border: 1px solid black; padding: 5px;"> <p>ガイドラインで推奨されているQOLの測定方法 (EQ-5D-5L)[1]</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>移動の程度</li> <li>身の回りの管理</li> <li>ふだんの行動</li> <li>痛み/不快感</li> <li>不安/ふさぎこみ</li> </ol> </div>

1. 国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター、中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン 第3版、2022

## ii. 価格調整範囲に係る制度化に至る経緯

過去の費薬材合同部会において、下記の視点から検討が積み重ねられ、現行の費用対効果評価制度において加算部分が価格調整範囲とされた。

『費用対効果評価に関する検討について(中医協 費薬材-2 H30.10.17)』抜粋

### <検討の視点>

- 現在の薬価・材料価格算定ルールにおいては、既存品目に対する類似性や臨床上的有用性の程度を踏まえ、算定方式、加算の有無・程度を決定するなど、臨床上の価値を中心に品目の価値を判断し、価格を算定している。また、これまで、中医協での議論を経て逐次制度改革を行い、ルールの精緻化が進められてきている。
- 費用対効果評価の価格調整の対象範囲を検討するにあたっては、このように一定の妥当性をもって算定された薬価・材料価格(算定ルール)との整合性をはかる必要がある。<sup>(※)</sup>  
(※) 例えば、類似薬効比較方式で算定された薬価について、比較薬よりも低い価格とするなどした場合、市場での公正な競争が確保できなくなる
- そのため、費用対効果評価の結果については、薬価・材料価格制度を補完するという観点から活用することを基本とし、それに基づき価格調整の対象範囲を検討してはどうか。

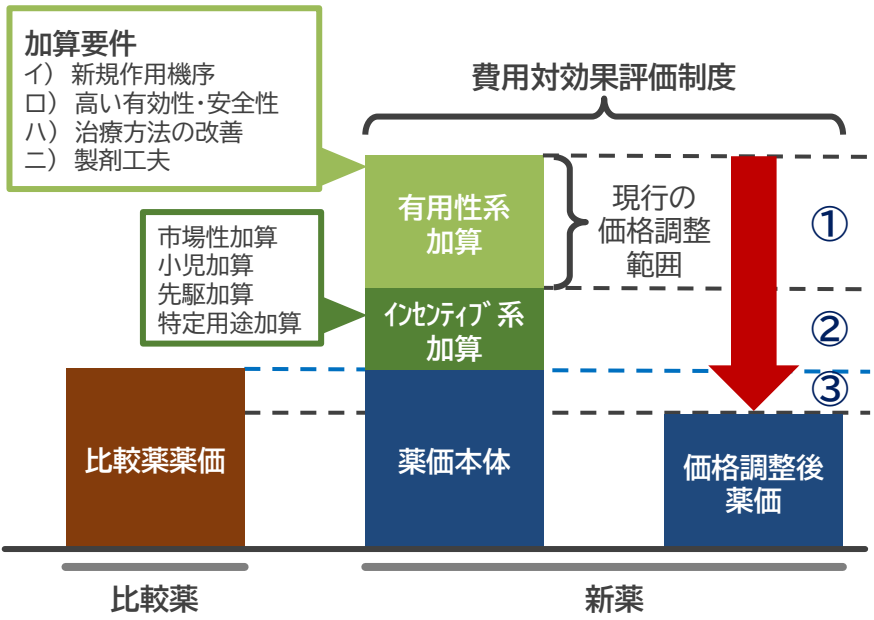
**これまでの中医協での議論の経緯を踏まえ、市場での公正な競争が確保できなくなるという観点から、価格調整範囲が薬価本体に割り込むことは受け入れられず、現行の価格調整範囲を維持するべきである。**



# ① 価格調整範囲のあり方

## iii. 薬価制度の観点における問題点

✓ イノベーション推進、稀少な疾患の開発促進、および市場での公正な競争の観点等を踏まえ、精緻な薬価算定基準が歴史的に構築されてきたが、その**位置付けに反することになる**。



- ① 臨床試験の結果等をもとに、薬価算定時に認められた**有用性加算が否定**されかねない
- ② 薬価本体まで価格調整が割り込むことは、薬事承認上認められた要件の**インセンティブとして**の機能を失う
- ③ 薬価算定時に有用性等が認められたにも関わらず、**比較薬に対し評価と価格の関係が逆転**する

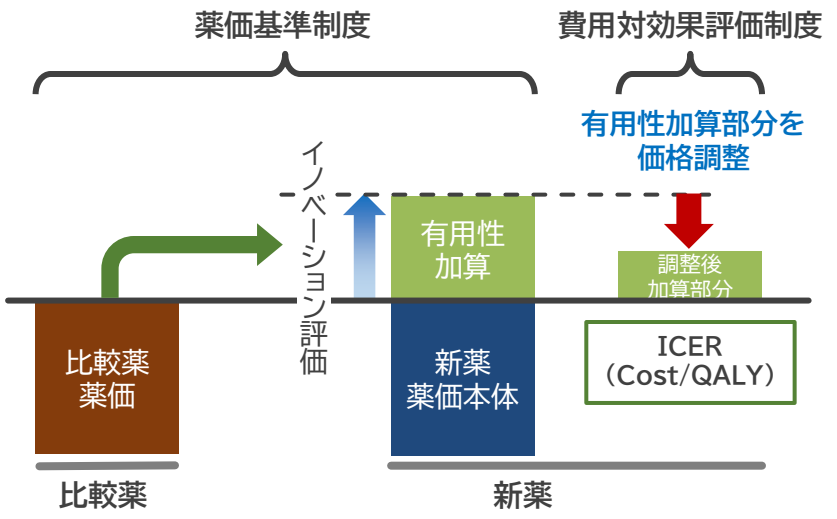
※原価計算方式であっても、薬価算定時に認められた**原価相当額を下回ると不採算となり、供給継続に支障を来し得る**。

① 価格調整範囲のあり方

# iv. イノベーション評価の観点における問題点

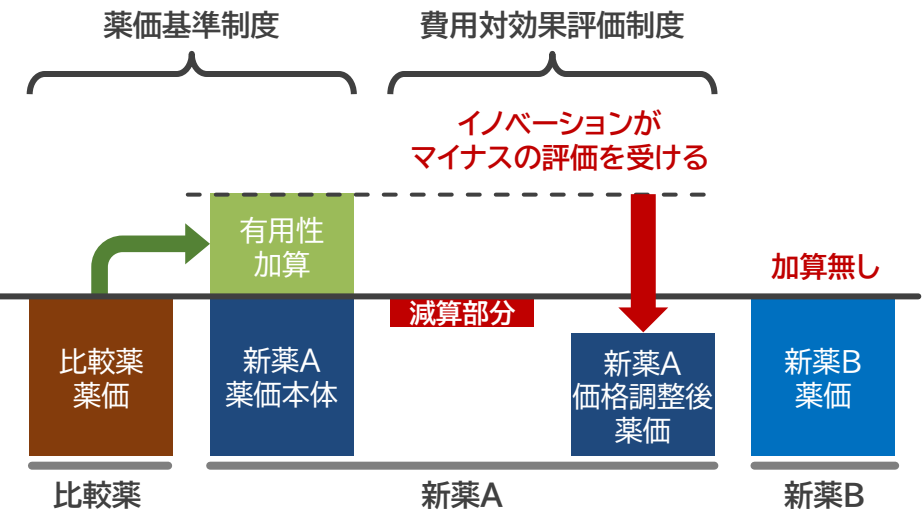
✓ 価格調整範囲が拡大すると、**薬価算定時に認められたイノベーションが否定**されるだけでなく、**比較薬よりも低い薬価**になることでむしろ**マイナスの評価**を受けることになる。

## 現行の費用対効果評価制度



加算部分における価格調整において、調整係数の下限は0.9とされており、比較薬に対する優越性は担保されている

## 中医協資料「論点」で示された考え方



薬価算定時に認められたイノベーション評価(加算)が比較薬に比してマイナスの評価を受けるだけでなく、同じ比較薬を参照した新薬Bの薬価(加算無し)に比して低い評価を受けることになりかねない

### 算定ルール 中医協 薬-2 参考1 R5.6.21より改変

- 新規に薬価基準に収載される新薬に、類似薬がある場合、市場での公正な競争を確保する観点から、新薬の1日薬価を類似性が最も高い類似薬(最類似薬)の1日薬価に合わせる。
- 当該新薬について、類似薬に比べて高い有用性等が客観的に示されている場合、上記の額に補正加算を行う。

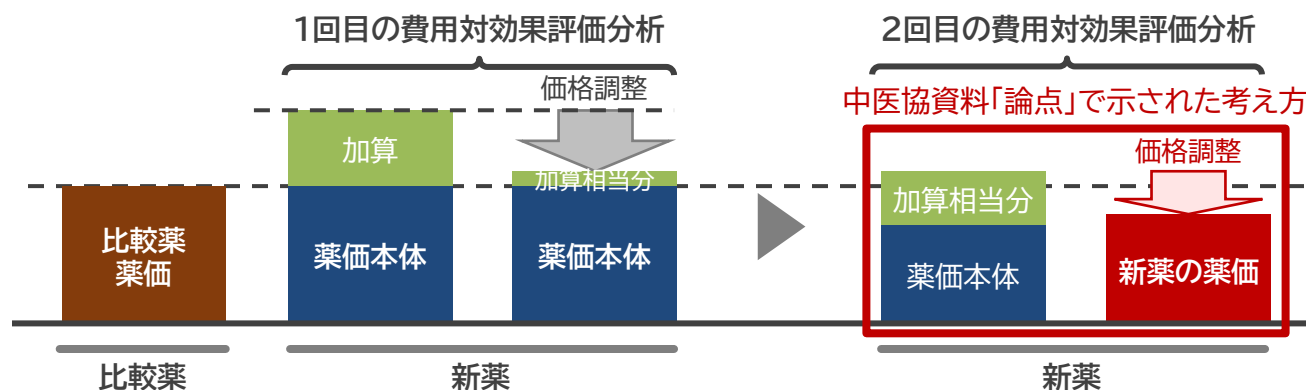
## ② 再指定時等の運用

### 中医協資料「論点」

○保険適用時に指定基準を満たさない品目の指定について、市場拡大によって基準に該当するかの確認は、四半期再算定の運用等を参考に検討してはどうか。  
 ○再指定時の価格調整範囲については、外国平均価格調整後の医薬品等の調整範囲を参考に、価格調整前の価格に対する有用性加算等の割合としてはどうか。

### 意見

- 市場の拡大及び効能追加等については既に複数の再算定が運用されており、収載後の指定の必要性は乏しい。
- 外国価格調整は国内外の著しい価格差を補正するもので、主旨が全く異なっている。
- **再指定時であっても薬価本体に価格調整範囲が割り込むことなく、当初の薬価及び価格調整範囲に立ち戻って価格調整を行うべきである。**



### ③ 比較対照技術の設定に係る考え方

#### 中医協資料「論点」

(比較対照技術の設定に係る考え方)

○比較対照技術の設定について、以下の考え方が明確となるよう、ガイドラインにおける記載を検討してはどうか。

- ① 臨床的に幅広く用いられており※、評価対象技術によって代替されると想定されるものを選定する
- ② ①が複数ある場合には、治療効果がより高いものを1つ選定する
- ③ ①、②により一意に決めることが難しい場合は、無作為化比較試験(Randomized controlled trial: RCT)等における比較対照技術、価格算定上の類似技術、費用対効果の程度等を考慮して最も妥当なものを選定する。

※ シェアで一律に決めるものではなく、臨床的に標準的な治療として用いられているもの

#### 意見

- 「費用対効果の程度」を理由に最も安価な品目に偏って選定されないよう、企業が示すデータや臨床の専門家等の意見も十分に考慮していただきたい。

「最も安価」であることを理由に選定されたことが、報告書等で確認された事例 (Appendix P20~23)

- ・ エムガルティ (ガルカネズマブ)
- ・ ポライビー (ポラツズマブ ベドチン)
- ・ パドセブ (エンホルツマブ ベドチン)
- ・ エンハーツ (トラスツズマブ デルクステカン)
- ・ リベルサス (セマグルチド)
- ・ ウィフガート (エフガルチギモド アルファ)

## ④ 品目指定時の配慮

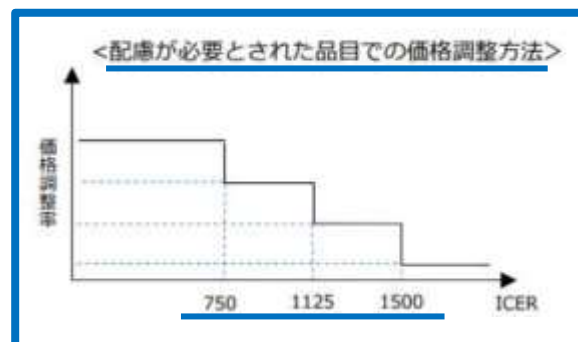
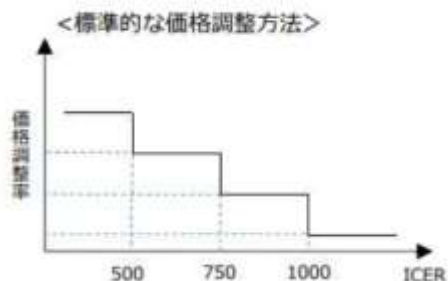
### 中医協資料「論点」

○品目指定時の配慮については、希少疾病を対象とした医薬品についてのこれまでの評価にあたっては明らかな問題はないことから、現状の規定を維持することとしてはどうか。

### 意見

- ドラッグロス品目(中医協 薬-1 R5.9.20)のおよそ半数は希少疾病を対象とした品目で、なかには日本で当該疾患の既存薬がない品目も含まれている。そのような医薬品の国内導入を阻害しないために、抗がん剤等のように価格調整に係る基準値の配慮は行われるべきである (Appendix P24~25)。
- 希少疾病用医薬品ではデータが乏しく分析結果の不確実性が高まるケースが多いため、今後も事例を集積しつつ、分析不能に係る運用については引き続き検討の必要がある。

中医協 費-1 5.10.4



- 治療方法が十分に存在しない希少な疾患のみに用いられる品目が評価の対象から除外されたことを踏まえ(中医協 費薬材-1 H31. 2. 20)、希少疾病用医薬品についても同様の配慮が行われるべきである

## ⑤ 価格引上げ条件

### 中医協資料「論点」

- 価格引上げの際等の条件についてどのように考えるか。

### 意見

#### 「現状の認識」

一部の集団で費用対効果に優れる結果が得られた場合であっても、価格を引き上げることによって費用対効果が過度に悪化することがないように、複数の条件や計算上の上限が設定されている（Appendix P26）。

#### ■ しかし、2つの引上げ条件は臨床試験や分析の実情から乖離する過度な条件であるため、撤廃・緩和が必要である。

- ✓ 引上げ条件①:「日本人を含むアジア人集団におけるデータ」を必須とすることは昨今の国際臨床試験をとりまく環境や議論の状況からみても妥当ではない。また、疾患領域によってはトップの学術誌がIF15以下の場合もあり、「IF15以上」という要件は再考する必要がある。
- ✓ 引上げ条件②:「薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること」は、比較対照技術との費用対効果評価において全く関連性は無く、本条件は不要である。

#### 参考)

- 引上げ条件①、②が無かった場合の価格調整事例「リベルサス（セマグルチド）」（Appendix P27）
- 一部の集団で費用対効果に優れる結果が得られた品目（Appendix P28）

## ⑥ 介護費用の取扱い

### 中医協資料「論点」

- 介護費用の分析の取扱いに関しては、引き続き結果への活用ができるかどうか研究を進めることとしてはどうか。
- 介護費用の分析結果が得られた場合の結果を反映するにあたっての取扱いについて、制度上どのように考えるか。

### 意見

- 介護費用の分析の取扱いに関しては引き続き研究を進めることに異論はなく、今般の高額医薬品(認知症)のような品目については、社会保障費全体へ影響を評価する観点から、介護費用等も含めた分析結果の活用についても検討すべきと考える。

参考)

- 公的介護費用の分析についてイメージ (Appendix P29)

# 費用対効果評価制度に対する意見（まとめ）

---

## ① 価格調整範囲のあり方

- 費用対効果評価はあくまで薬価制度を補足する制度であり、現行の対象範囲を維持すべきである。
- 価格調整範囲が薬価本体に割り込むことは、薬価制度のあり方にも踏み込んでおり容認できない。

## ② 再指定時等の運用

- 再指定時であっても薬価本体に価格調整範囲が割り込むことなく、当初の薬価及び価格調整範囲に立ち戻って価格調整を行うべきである。

## ③ 比較対照技術の設定に係る考え方

- 「費用対効果の程度」を理由に最も安価な品目に偏って選定されないよう、企業が示すデータや臨床の専門家等の意見も十分に考慮していただきたい。

## ④ 品目指定時の配慮

- ドラッグロス品目のおよそ半数は希少疾病を対象とする品目で、なかには日本で当該疾患の既存薬がない品目も含まれており、そのような医薬品の国内導入を阻害しないために、抗がん剤等のように価格調整に係る基準値の配慮は行われるべきである。

## ⑤ 価格引上げ条件

- 引上げ条件は臨床試験や分析の実情から乖離する過度な条件であるため、撤廃・緩和が必要である。

## ⑥ 介護費用の取扱い

- 介護費用の分析の取扱いに関しては引き続き研究を進めることに異論はない。



---

# Appendix

# 中医協での論点に係る前回の陳述意見

## 比較対照技術の設定に係る考え方

- 「最も安価なもの」だけではなく、原則である「実臨床において幅広く使用され評価対象技術によって代替される医療技術」が比較対照技術に選定される必要がある。

## 再指定時等の運用

- 市場拡大に伴う費用対効果評価制度への該当性について、既に各種再算定の仕組みがあるため、費用対効果評価を改めて行う必要はないと考える。

## 品目指定時の配慮

- 希少疾病用医薬品については指定難病等と同様に評価の対象から除外すべきである。

## 価格調整範囲のあり方

- 費用対効果評価制度は薬価制度を補完する位置付けであるため、追加的有用性やICERを検証し、加算部分について調整を行うことが基本的な制度の仕組みであり、価格調整の対象範囲は拡大させるべきではない。

## 価格引上げ条件

- 現行の価格引上げに必要な条件の撤廃・緩和を検討すべきである。

## 介護費用の取扱い

- 我が国において引き続き研究を行うとともに、費用対効果評価に限らず、介護負担の軽減等を評価する仕組みを検討いただきたい。

# 薬価制度の抜本改革について 骨子 別紙

## 3. 費用対効果評価の試行的導入

### 2) 価格調整の範囲

- 類似薬効比較方式により算定された品目については、以下の点を踏まえ、**比較薬の1日薬価を下回らない**こととし、算定時の補正加算に相当する部分を価格調整の対象範囲とする。
  - ① 加算を受けている品目を基本として選定されており、比較薬に対する臨床的有用性等があるものとして、薬価上の加算が行われていること
  - ② **比較薬に対して臨床的有用性等があるとされたにもかかわらず、比較薬の薬価よりも割り込むことは、類似薬効比較方式の考え方を大きく逸脱すること**
  
- 原価計算方式により算定された品目については、薬価全体を価格調整の対象範囲とするが、試行的導入においては、営業利益に補正が行われた品目のみを対象として選定しているため、価格調整後の価格は、営業利益本体、製品総原価及び流通経費の合計額を下回らないこととする。

## 制度の基本的な考え方

### (2) 結果活用について

結果活用については、下記の**原則**に基づくことが確認された。

- ① 医療技術の評価については、安全性・有効性の評価をはじめ、様々な観点からの評価を総合的に勘案するという考え方を基本的に維持しつつ、費用対効果評価の結果を活用し、より妥当な医療技術の評価を目指すものとする。
- ② **費用対効果評価は医療技術の評価の一部であり、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。**
- ③ 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。**

## ICERの不確実性について

公的分析においても、費用対効果評価専門組織においても臨床的な見解あるいはその他の臨床データ等を参照しながら、結果を慎重に解釈しているところであり、それは**不確実性の大きなデータに基づく意思決定**という難問に対して、我々なりに真摯に対応してきた結果でもある[1]。

介入によってもたらされる追加的な健康上のベネフィットと費用の評価は不確実である。したがって、期待される**費用対効果に基づく決定も不確実である**[2]。

*Any assessment of the additional health benefits and additional cost offered by an intervention is uncertain. Therefore, any decision based on expected cost-effectiveness will also be uncertain.*

期待される効果とコストのみに基づいて意思決定を行うことは、不確実性が重要ではないということではない。意思決定を取り巻く**不確実性の影響の評価は、意思決定プロセスの中で不可欠である**[2]。

*Making decisions based only on expected effects and costs should not imply that uncertainty is unimportant. Indeed, an assessment of the implications of uncertainty surrounding a decision is an essential part of any decision-making process.*

1. 白岩 健. 費用対効果評価ガイドラインの考え方 —比較対照技術と分析対象集団について—. 保健医療科学 Vol.72, No.2, 2023, P.152-160.
2. Michael F. Drummond, et al. 11.1.2 Why does uncertainty matter?. Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes, Fourth Edition. 2015, P390.

# 比較対照技術選定に関する事例

公表情報をもとに製薬協作成

## エムガルティ（ガルカネズマブ）

費用対効果評価専門組織において決定された比較対照技術を選定する目的で、片頭痛予防薬の1人1日あたりの使用量に関するNDBの共同解析を実施した。

**2剤目、3剤目として処方された割合はバルプロ酸の方が圧倒的に多いにも関わらず、比較対照技術としては最も安価なプロプラノロールが選定された。**

片頭痛予防薬の2剤目の治療又は3剤目の治療を行う患者と片頭痛予防薬の3剤目の治療を中止した患者の割合(NDB共同解析)

集計項目	患者数	分析対象集団
ロメリジン(中止)	91,418	2剤目の治療又は3剤目の治療を行う患者
ロメリジン(中止)→バルプロ酸(継続)	2,463	
ロメリジン(中止)→プロプラノロール(継続)	439	
ロメリジン(中止)→バルプロ酸(中止)	11,417	
ロメリジン(中止)→プロプラノロール(中止)	2,360	
ロメリジン(中止)→バルプロ酸(中止)→プロプラノロール(継続)	187	
ロメリジン(中止)→プロプラノロール(中止)→バルプロ酸(継続)	137	3剤目の治療を中止した患者
ロメリジン(中止)→バルプロ酸(中止)→プロプラノロール(中止)	809	
ロメリジン(中止)→プロプラノロール(中止)→バルプロ酸(中止)	498	
総計	109,728	

## ポライビー（ポラツズマブ ベドチン）

決定された分析枠組み		実際の分析での比較対照技術
対象とする疾患	比較対照技術	
(A)再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫(2次治療)	リツキシマブを含む救援化学療法のうち最も費用対効果のよいもの	R-ICE療法
(B)再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫(3次治療以降)	リツキシマブを含む救援化学療法のうち最も費用対効果のよいもの	R-ICE療法

- 比較対照技術は「最も費用対効果のよいもの」と合意しているが、専門組織の検討事項として「最も安価なレジメンを使用したとしても予後に直接の影響がないと考えるものを比較対照技術としている」という見解が示されている
- 結果的に比較対照技術として分析されたのは「R-ICE療法」だが、実臨床での使用割合は0.9%(2次治療)、1.3%(3次治療)という報告があり、専門組織の議論においても製造販売業者から「ほぼ数%、2~3%ぐらい」という陳述がなされている**

# 比較対照技術選定に関する事例

公表情報をもとに製薬協作成

## パドセブ（エンホルツマブ ベドチン）

企業の主張のポイント(専門組織議事録より)

- 本試験において、各患者についてランダム化前に、本邦では、ドセタキセル、パクリタキセルの2剤のいずれかを医師が選択した。その後、ランダム化によってパドセブ群、化学療法群に割り付けがなされ、化学療法群はさきに選択した薬剤が投与された。
- 1つの薬剤のみを選択することは、その薬剤が該当治療全体を代表していることになり、複数の代表的な治療オプションがある場合は、実臨床との乖離が大きくなる。
- ドセタキセル、パクリタキセルの2剤の治療効果の差は明確でないことから、両剤を比較対照技術とし、使用実態に基づいた加重平均による評価が適切ではないかと考えている。

専門組織委員の使用実態に関する意見(専門組織議事録より)

- パクリタキセルとドセタキセルは同じ薬ではない。タキサン系ではあるのですけれども、同じ薬ではないですし、例えばパクリタキセルの場合はひまし油が入っているの、いわゆるインフュージョン・リアクションの関係でいろいろな薬を前投与したり、ひまし油が入っていることによって回路を変えなければいけないということがあるので、どうしても実臨床ではドセタキセルを選んでしまうことが多いと思います。ですから、今回の例を見ても、ドセタキセルのほうを選ぶ診療科というか、治験※の部分が多いということにはなると思います(※参考:国際共同第Ⅲ相試験 日本人集団における化学療法群48例の内訳:ドセタキセル36例、パクリタキセル12例、パドセブ申請資料より抜粋)。
- ドセタキセルのほうが一般的により使われているということであれば、使われているほうを対象として考えるという考え方もあるのかなという気がしております。

<最終的に選択された比較対照技術> 基本分析:パクリタキセル

## エンハーツ（トラスツズマブ デルクステカン）

「化学療法歴のあるHER2 陽性の手術不能又は再発乳癌(標準的な治療が困難な場合に限る)」に係る主な論点

○ 比較対照技術について

(専門組織(1回目)の見解)

- ラパチニブ+カペシタビン併用療法は選択肢の一つであるが、各レジメン間の有効性に関するエビデンスが十分に示されていない。比較対照技術についてはトラスツズマブ+化学療法の組み合わせは広くおこなわれていることから最も安価な抗HER2薬であるトラスツズマブ+化学療法の組み合わせとするべき。

(企業からの不服意見)

- 有効性に関するエビデンスが十分でない場合、比較対照技術は単一のレジメンとして最も広く使用されているラパチニブ+カペシタビンを選択するべき。

(専門組織(2回目)の見解)

- 比較対照技術については、分析ガイドラインを踏まえ、比較対照技術については最も安価な抗HER2薬であるトラスツズマブ+化学療法の組み合わせとするべき。

※化学療法については、当該分析対象集団に対し、トラスツズマブと組み合わせる一般的な使用されることのあるもののうち、最も安価なものとする。

# 比較対照技術選定に関する事例

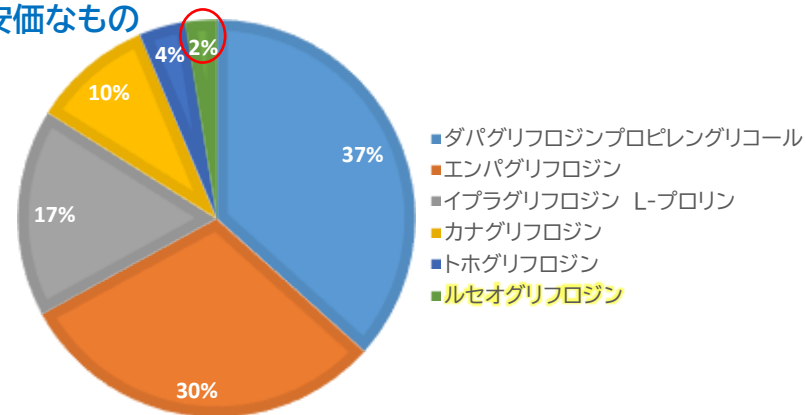
公表情報をもとに製薬協作成

## リベルサス（セマグルチド）

以下のようにすべての分析対象集団において「最も安価なもの」が比較対照技術に設定された。

- 分析対象集団(A): DPP-4阻害薬とSGLT2阻害薬のうち**最も安価な組み合わせのもの**
- 分析対象集団(B): SGLT2阻害薬のうち**最も安価なもの**
- 分析対象集団(C): GLP-1受容体作動薬(注射剤)のうち**最も安価なもの**

特に分析対象集団(B)の比較対照技術に設定されたルセオグリフロジンはSGLT2阻害薬内の医師の処方シェアが最も低いものであった(2%)



日経メディカル. SGLT2阻害薬 第5回調査. 2022年12月10日.

<https://medical.nikkeibp.co.jp/leaf/mem/pub/series/survey/202212/577659.html>



## 比較対照技術選定に関する事例

公表情報をもとにPhRMA作成

### ウィフガート（エフガルチギモド アルファ(遺伝子組換え)）

効能・効果:全身型重症筋無力症(ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る)

比較対照技術と選定されたものは、評価対照技術の前治療に当たるものであり、『評価対照技術によって代替されるもの』を満たしていない

#### 専門組織(第1回目)の見解

- ▶ ソリリス(エクリズマブ)は実臨床においてあまり使用されていない可能性があり、比較対照技術として設定する場合留意が必要である。
- ▶ 分析枠組みとしては、比較対照技術は、プレドニゾン±免疫抑制剤±アセチルコリンエステラーゼ阻害薬とする公的分析案が妥当であると考える。
- ▶ ただし、免疫グロブリン療法・血漿交換等、エクリズマブをそれぞれ比較対照とする感度分析について分析可能性に関する検討も含めて実施すること。

#### 企業の不服意見

- ▶ 企業の調査結果をもとに、ウィフガートに代替されるのは IVIg、血漿交換、エクリズマブであり、比較対照技術を見直すべきと考える。

#### 専門組織(2回目)の見解

- ▶ ウィフガートの前治療の企業の調査結果については、ウィフガートが最近使用できるようになった状況であり、前治療の根拠にならないと考える。
- ▶ 基本分析としては薬事承認の内容を考慮し、より確実性の高い分析を行った公的分析案が妥当と考える。一方、臨床実態について不確実性が高く、感度分析として免疫グロブリン療法・血漿交換等、エクリズマブをそれぞれ比較対照とする分析を実施する事が妥当ではないか。

<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001155124.pdf>

#### 「審査報告書より」

- gMGの治療法は、本邦では免疫療法が基本となり、補助的にコリンエステラーゼ阻害薬(ピリドスチグミン、アンベノニウム等)が使用されている。免疫療法として、少量の経口副腎皮質ステロイド又は非ステロイド性免疫抑制剤(シクロスポリン又はタクロリムス水和物)から投与を開始し、十分な有効性が認められず、速やかな症状の改善が必要な場合に短期的治療として、IVIg又は血液浄化療法が行われ、IVIg及び血液浄化療法による症状の管理が困難な場合は、エクリズマブが使用されている。
- 効能・効果について、本剤と同様な位置付けとして既に用いられている治療である IVIg と同様の効能・効果とすることは適切である。

[https://www.pmda.go.jp/drugs/2021/P20211223002/113014000\\_30400AMX00013\\_A100\\_1.pdf](https://www.pmda.go.jp/drugs/2021/P20211223002/113014000_30400AMX00013_A100_1.pdf)

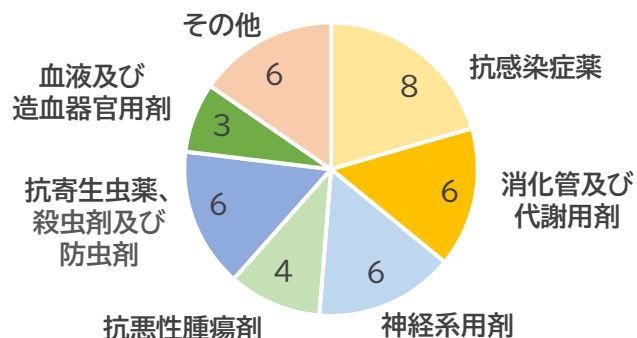
# ドラッグロス品目の分析（日本における必要性）

- 前回の中医協意見陳述で報告したドラッグロス86品目<sup>1</sup>のうち、診断薬等11品目を除く75品目について分析した

## ドラッグロス品目の分類

分類	全75品目	必要性・意義
日本で当該疾患の既存薬がない品目	39(52%)	日本で初めての治療薬となる
日本で当該疾患の当該作用機序薬がない品目	56(75%)	患者に新たな治療の選択肢を提供する
小児を対象とした品目	30(40%)	医療上特に必要とされる
希少疾病を対象とした品目	36(48%)	重篤な疾病を対象とするとともに、特に医療上の必要性が高い
欧米で薬事特例 <sup>2</sup> を受けた品目	46(61%)	各国が国策として官民一体となって取り組んでいる治療薬

- ✓ 「日本で当該疾患の既存薬がない品目(39品目)」は、広範な疾患領域に及ぶ<sup>3</sup>
- ✓ ドラッグロス75品目には指定難病(4疾患6品目)や小児慢性特定疾病(6疾患9品目)が含まれている
- ✓ 患者会からの要望と品目の例



日本経済新聞 2023年5月31日(抜粋):

日本希少がん患者会ネットワーク(2022年9月)

- ・ 消化管間質腫瘍(GIST)の患者・家族らの会「GISTERS」の理事長・西舘澄人氏は「**米欧で発売されている新興バイオ企業の薬が日本に入っていない**」と嘆く。

希少難病の治療薬開発に関する要望書(抜粋):

一般社団法人日本筋ジストロフィー協会(2023年6月)

- ・ 「ビルトラルセン」が承認され患者・家族は大きな希望を得た。しかし、この薬の治療対象はDMD全体の10%程度に過ぎず、**他の遺伝子変異に有効な新薬開発が待たれている**。DMD:デュシェンヌ型筋ジストロフィー

品目例: EXONDYS 51、VYONDYS 53、EMFLAZA

欧州製薬団体連合会 2023年10月26日(抜粋)<sup>4</sup>:

NPO法人 パンキャンジャパン 理事長 眞島喜幸氏

- ・ **ドラッグロスの問題は、進行性がんや希少がんにおいて特に顕著であり、あらかじめ決められた国の医療予算では、希少疾患や患者サブグループの割合が十分に考慮されていない。**

1. 2023年7月5日 中医協薬価専門部会 薬-1 P34  
 2. 米) ファストトラック指定、ブレイクスルー指定、(欧) 迅速審査、PRIME指定  
 3. 「抗感染症薬」や「抗寄生虫薬等」など、日本では患者が少ないと想定される品目も一部含まれる  
 4. 欧州製薬団体連合会 アクセス委員会

## 現行の整理（除外基準及び配慮が必要な品目について）

- 治療方法が十分に存在しない疾病のみ等に用いられる品目及び小児のみに用いられる品目については、費用対効果評価の対象から除外することとされている。
- 適応症の一部に、治療方法が十分に存在しない疾病等や小児疾患が含まれ、分析対象集団として分析を行った場合及び抗がん剤等については、価格調整における配慮の要否について、総合的な評価を行うこととされている。

対象品目	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治療方法が十分に存在しない疾病のみ等(※1)に用いられる品目</li> <li>・ 小児のみに用いられる品目(※2)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 適応症の一部に、治療方法が十分に存在しない疾病等(※1)や小児疾患(※2)が含まれ、分析対象集団として分析を行った場合</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 抗がん剤(※3)</li> </ul>
対応	当該品目を費用対効果評価の対象から除外する(※4)	価格調整における配慮の要否について総合的な評価を行う(※5)	

(※1) 指定難病に対する治療のみに用いるもの、血友病又はHIV感染症を対象とする品目。

(※2) 日本における小児用法・用量承認が取得されている品目。

(※3) 承認された効能効果において悪性腫瘍が対象となっており、悪性腫瘍患者を対象に分析を行った場合に配慮を行う。

(※4) ただし、市場規模の大きな品目(350億円以上)、単価が高い品目等については、中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とする。

(※5) 「公的介護費や生産性損失」を含めた分析結果については、国内の知見に基づき行われたものに限り、併せて提出することは可能とする。価格調整には用いないが、提出された分析結果は公表し、事例を集積した上で、今後の仕組みの参考とする。

## 価格引き上げの条件と引き上げ率

	(i)ドミナント等	(ii)ICER 200万円/QALY未満
条件① ・ 比較対照品目(技術)より効果が高いこと(又は同等であること)が臨床試験等により示されていること	○	○(※1) (別に定める条件(※2)あり)
条件② ・ 比較対照品目(技術)と比べて、全く異なる品目であること、又は基本構造や作用原理が異なるなど一般的な改良の範囲を超えた品目であること	○	○
価格調整対象範囲(※3)の引き上げ率	50%(※4) (価格全体の10%を上回らない)	25%(※5) (価格全体の5%を上回らない)

(※1) ICER 200万/QALY未満の品目では、「比較対照品目(技術)より効果が高いことが臨床試験等により示されていること」とする。

(※2) 別に定める条件(以下のいずれも満たす臨床研究等)

(1) 受理あるいは掲載時点において、Clarivate analytics社の”InCites Journal Citation Reports”により提供されているimpact factor(5年平均)が15.0を超える学術誌に原著論文として受理されている(ただし、レビュー雑誌、創刊10年以内の雑誌はのぞく)。

(2) (1)を満たす臨床研究等のうち、日本人を含むアジア人を対象とした集団において、費用対効果評価における比較対照品目(技術)よりも優れていることが統計学的に示されている。

(※3) 営業利益は除く。

(※4) 引上げ額は比較対照品目(技術)と比べた患者1人あたりの費用削減額の2分の1に相当する額以下とする。

(※5) 引上げ額はICER 200万円/QALYとなる価格を上回らない額とする。

⑤ 価格引上げ条件

# 価格引上げ条件が無かった場合の価格調整事例

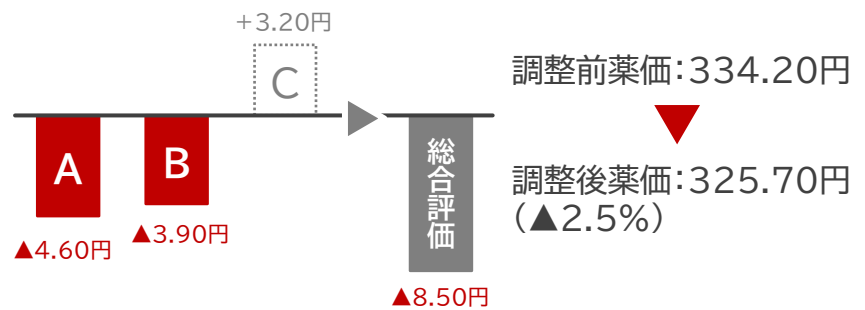
## 【リベルサス（セマグルチド(遺伝子組換え)）】

中医協 総-2 R4.7.20より改編

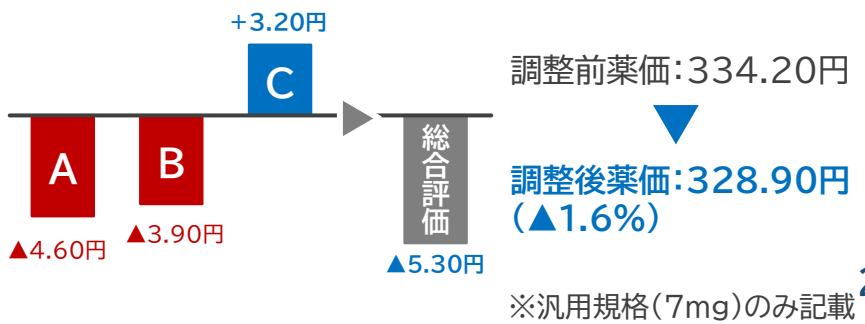
対象集団	比較対照技術	ICER(円/QALY)の区分 ※1、2	患者割合 (%)*
(A)DPP-4阻害薬を含む経口血糖降下薬で血糖コントロールが不十分で、他の経口血糖降下薬が投与対象となる2型糖尿病患者	DPP-4阻害薬+SGLT2阻害薬	費用増加※3	32.1
(B)DPP-4阻害薬を含まない経口血糖降下薬で血糖コントロールが不十分で、他の経口血糖降下薬が投与対象となる2型糖尿病患者	SGLT2阻害薬	費用増加※3	27.5
(C)経口血糖降下薬で血糖コントロールが不十分でGLP-1受容体作動薬(注射剤)が投与対象となる2型糖尿病患者	GLP-1受容体作動薬(注射剤)	<b>ドミナント※4</b>	40.4

- ※1 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いたICERの区分を用いる。
- ※2 決定されたICERの区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。
- ※3 比較対照技術に対し効果が同等であり、かつ費用が増加するもの
- ※4 **比較対照技術に対し効果が増加し、かつ費用が削減されるもの。**  
ただし、「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」には該当しない(薬価算定の基準(保発0209 第1号令和4年2月9日))。

### 「実際の価格調整」



### 「価格引上げ条件が無かった場合の価格調整」



※汎用規格(7mg)のみ記載



⑤ 価格引上げ条件

# 一部の集団で費用対効果に優れる結果が得られた品目

(ドミナント、費用削減、200万円/QALY未満) 公表資料および該当企業からの聞き取りを基にPhRMA作成

品目名	薬価算定方式	有用性系加算	分析対象集団	比較対照技術	評価結果	価格引上げ条件① 比較対照品目より効果が高いこと(又は同等であること)が臨床試験等により示されていること(*1)、(*2)	条価格引上げ条件② 比較対照品目と比べて、全く異なる品目であること、又は基本構造や作用原理が異なるなど一般的な改良の範囲を超えた品目であること	
テルリジー	類似	ハ:利便性 有用性加算(Ⅱ) (A=10%)	A, B	MITT (2製剤吸入における 3剤併用)	費用削減	○	×	
			J	LAMA/LABA	ドミナント	△	アノーロとは直接比較の臨床試験があるが、最も安価なウルティプロとは無し	×
			K	ICS/LABA	ドミナント	○		×
			G, H, L	ICS/LABA	200万円/ QALY未満	×	NEJM(IF >15)に臨床試験結果が掲載されているが、日本人を含むアジア人集団のデータが示されていない	×
カボメティクス	類似	ロ:臨床的意義のある効果の大きさ 有用性加算(Ⅱ) (A=10%)	がん化学療法後に増悪した切除不能な肝細胞癌(二次治療以降)	レコラフェニブ	費用削減	×	×	
リバルサス	類似	二:製剤工夫(侵襲性低減) 有用性加算(Ⅱ) (A=5%)	経口血糖降下薬で血糖コントロールが不十分でGLP-1受容体作動薬(注射剤)が投与対象となる2型糖尿病患者	GLP-1受容体作動薬(注射剤)のうち最も安価なもの	ドミナント	○	×	
ダラキューロ	類似	ハ:利便性 有用性加算(Ⅱ) (A=5%)	造血幹細胞移植の適応とならない未治療の多発性骨髄腫	ダラザレックス	費用削減	○	×	
ノクサフィル	原価	なし	好中球減少が予測される血液悪性腫瘍患者	イトラコナゾール	200万円/ QALY未満	×	NEJM(IF >15)に臨床試験結果が掲載されているが、日本人を含むアジア人集団のデータは示されていない	×
ベクルリー	原価	なし	中等症II	標準治療	200万円/ QALY未満	×	LANCETおよびNEJM(共にIF >15)に臨床試験結果が掲載されているが、日本人を含むアジア人集団のデータは示されていない	○

(\*1) ICER 200万/QALY未満の品目では、「比較対照品目(技術)より効果が高いことが臨床試験等により示されていること」とする。

(\*2) ICER 200万/QALY未満の品目に対する別に定める条件(以下のいずれも満たす臨床研究等)

- (1) 受理あるいは掲載時点において、Clarivate analytics社の”InCites Journal Citation Reports”により提供されているimpact factor(5年平均)が15.0を超える学術誌に原著論文として受理されている(ただし、レビュー雑誌、創刊10年以内の雑誌はのぞく)。
- (2) (1)を満たす臨床研究等のうち、日本人を含むアジア人を対象とした集団において、費用対効果評価における比較対照品目(技術)よりも優れていることが統計学的に示されている

⑥ 介護費用の取扱い

# 公的介護費用の分析についてイメージ(あくまで考えられる手法の一例)

- ① 認知症高齢者の日常生活自立度別の介護費用を介護DBから抽出する(介護DBでは要介護認定情報により認知症高齢者の日常生活自立度の把握が可能であることから)
- ② 次に、公表論文を参考に、認知症高齢者の日常生活自立度と臨床指標であるMMSE(ミニメンタルステート検査)の相関関係を使用し、MMSEで重症度分類した重症度別の介護費用を算出する
- ③ それを費用対効果分析モデルにおいて活用する

### 認定調査票より

0. 姓・姓の略称 7. 姓が本姓

性別が対応 10. モニター測定(血圧、心拍、酸素飽和度等) 11. じょくそうの処置

12. カテーテル(コンドームカテーテル、留置カテーテル、ウロストーマ等)

**7 日常生活自立度について、各々該当するもの一つだけ○印をつけてください。**

障害高齢者の日常生活自立度(寝たきり度)	自立・J1・J2・A1・A2・B1・B2・C1・C2
認知症高齢者の日常生活自立度	自立・I・IIa・IIb・IIIa・IIIb・IV・M

「日常生活自立度」のうち、上段の「障害高齢者の日常生活自立度(寝たきり度)」や年齢等を同一とし、そのうえで下段の「認知症高齢者の日常生活自立度」を段階別にカテゴリー分けして、介護費用の差を比べることで、「認知症の程度」と「介護費用の高低」を評価できるのではないか

<https://www.mhlw.go.jp/files/05-Shingikai-11901000-Koyoukintoujidosuikatekyoku-Soumuka/0000126242.pdf>

KYOTO UNIVERSITY 13

論文名	改訂長谷川式簡易知能評価スケール(HDS-R)、Mini-Mental State Examination(MMSE)と障害老人の日常生活自立度(寝たきり度)、認知症高齢者の日常生活自立度の関連について
著者名	久野真矢
雑誌名	老年精神医学雑誌
巻/号/頁/年	20/8/883-891/2009
抄録	本研究は、改訂長谷川式簡易知能評価スケール(HDS-R)、Mini-Mental State Examination(MMSE)と障害老人の日常生活自立度(寝たきり度)、認知症高齢者の日常生活自立度(認知症度)の関連を調べることを目的とした、高齢者施設利用者182人を対象として解析した結果、以下のことが判明した。寝たきり度とHDS-R、MMSEの関連性は弱い(HDS-R: $\rho = -0.321$ , MMSE: $\rho = -0.328$ )。認知症度とHDS-R、MMSEの関連性は非常に強く(HDS-R: $\rho = -0.732$ , MMSE: $\rho = -0.736$ )。HDS-R、MMSE得点の低下に伴い認知症度ランクも重度化する。また、HDS-R、MMSEと認知症度は精度の高い回帰式で相互の予測が可能である: HDS-R得点 $= -5.86 \times$ 認知症度 $+ 26.47$ , 認知症度 $= -0.17 \times$ HDS-R得点 $+ 4.51$ , MMSE得点 $= -4.94 \times$ 認知症度 $+ 26.35$ , 認知症度 $= -0.20 \times$ MMSE得点 $+ 5.30$ ( $R^2 = 0.990 \sim 0.996$ , $p < 0.001$ )。
キーワード	改訂長谷川式簡易知能評価スケール(HDS-R) / Mini-Mental State Examination(MMSE) / 障害老人の日常生活自立度(寝たきり度) / 認知症高齢者の日常生活自立度

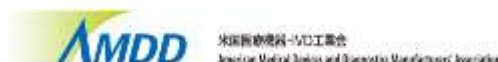
# 中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会 意見陳述資料 2023年11月17日

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





# 費用対効果評価専門部会の議論を受けて

---

- 9月13日の専門部会における以下の提案について賛同する
  - 「人員不足等の理由で分析が難しい場合に、企業から企業分析ができないことを申し出る新たなプロセスを検討してはどうか」
  - 「専門組織の意見様式等を見直し、分析の論点にそった議論を促す仕組みを検討してはどうか。」
- 8月2日の業界意見陳述を受けた、「医薬品と医療機器の違いに根差した制度設計の細かいところは別々に議論すべき」との委員のご発言を踏まえ、以下の2点を提案したい
  1. C2Hおよび公的分析班との柔軟なコミュニケーションについて
  2. 医療機器の特性に応じた評価のあり方について

# 1. C2H・公的分析班との柔軟なコミュニケーションについて (1/2)

---

## 【課題】

協議内容・時間の制約や、書面のみのお返答では、個別性の高い医療機器の特性を理解することが困難なため、事実誤認のリスクがある

- 分析対象技術、比較対照技術の検討にあたっては、近接する技術との類似性・相違性（構造、使用目的、適用患者、Incremental innovationの観点を含む）、エビデンスの利用可能性など、医療機器の特性を考慮する必要があること
- 特に、医療機器のイノベーション（追加的有用性）は、モノとしての形状、構造に起因する場合が多いこと
- 追加的有用性の有無の評価にあたっては、非臨床を含むデータの活用の可能性のあること
- 医薬品の銘柄別収載、機器は機能区分収載であることにより、機器の分析はNDB等によるコストデータの利用に制約を受ける場合があること

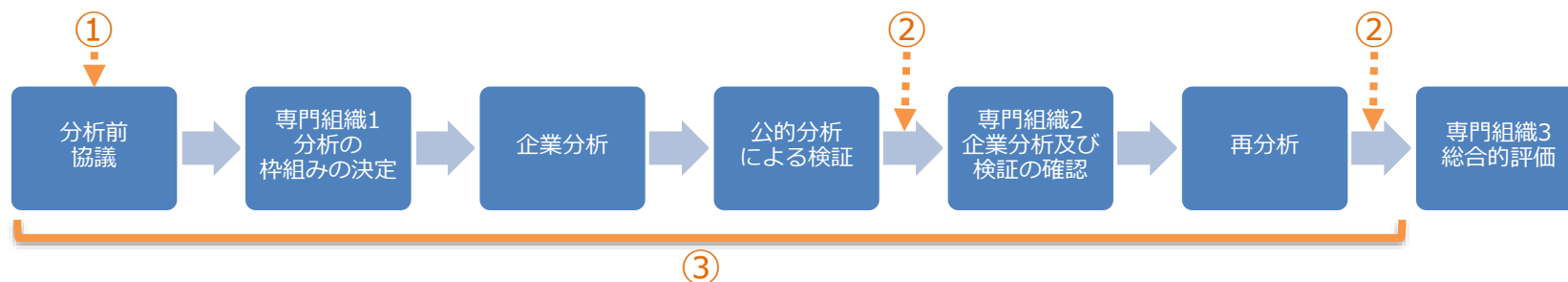
# 1. C2H・公的分析班との柔軟なコミュニケーションについて (2/2)

## 【改善要望】

個別性の高い医療機器の特性を理解されたうえで適切な分析ができるよう、分析方法等に関する分析前協議、企業分析実施中の必要な協議において、C2H・公的分析班と柔軟なコミュニケーションができるよう運用面で配慮いただきたい

### ● 具体案

- ① 必要に応じて**分析前協議の対象と時間を拡大**していただきたい
- ② 公的分析の中立性に十分配慮したうえで、**事実確認等を目的として、公的分析の理解を確認**できる機会をいただきたい
- ③ **公的分析班との直接的なやりとり**を可能としていただきたい
  - ・ 医療機器（デモ製品等）を直接触って製品の理解を深めていただく
  - ・ 分析手法やエビデンスの適切性に関する意見を伺う
  - ・ 公的分析班からの質問・指摘事項の意図を口頭で確認し、企業の理解を説明する



## 2. 医療機器の特性に応じた評価のあり方について

---

- 専門組織意見書（7月12日部会資料参照）にあるように、医療機器の評価事例の集積後に、医療機器の特性に応じた評価のあり方について検討いただきたい
- その際は医療機器の特性について十分な理解を担保する観点から、検討過程に業界が関与できるようにしていただきたい

# **參考資料**

**2023年8月2日業界意見陳述資料拔粹**

# 制度及び運用上の課題に対する改善要望（まとめ）



## A) C2H・公的分析班とのコミュニケーションについて

- ① 比較試験が存在しないことが明らかな場合など、必要に応じて分析前協議の対象と時間を拡大して、想定されるエビデンスや検討しているパラメータの推定方法について協議させていただきたい
- ② 事実確認等を目的として、専門組織2・3の前に公的分析の結果を確認できる機会をいただきたい
- ③ 公的分析班との直接的なやりとりを可能としていただきたい



## B) 分析の流れについて

- ① 公的分析の指摘を踏まえて企業分析をやり直した場合、再提出することを可能としていただきたい
- ② 公的分析の指摘に対して丁寧な議論ができるよう、必要に応じて公的分析期間の延長を検討できるようにしていただきたい



## C) 総合的評価について

- 保険適用希望においては高い蓋然性をもって臨床的有用性が認められたにも関わらず、費用対効果評価においてはエビデンスが不足するものについて、価格調整における配慮の要否について総合的評価で審議いただきたい



## D) 価格調整について

- 費用最小化分析の価格調整係数に「価格調整における配慮が必要とされたもの」の区分を設定して、価格調整係数を緩和していただきたい



## E) 分析および評価の実施について

- ① 「分析実施に必要な人員が不足する場合」についても「分析不能」としてご審議いただきたい
- ② H3の指定プロセスに企業の申し出によるものを追加していただきたい



## ◆ 専門組織の意見に対する見解

- 機器では評価は現状2品目のみであり事例が十分ではないため、拙速な価格調整対象の拡大は行うべきではない
- 公的分析の体制を充実させる方向性については賛同したうえで、さらなる質向上のための踏み込んだ取り組みを期待する。

# 異なる比較対照について、その構造的特性から高い蓋然性を以て追加的有用性が見込める場合でも、費用最小化分析となりうる

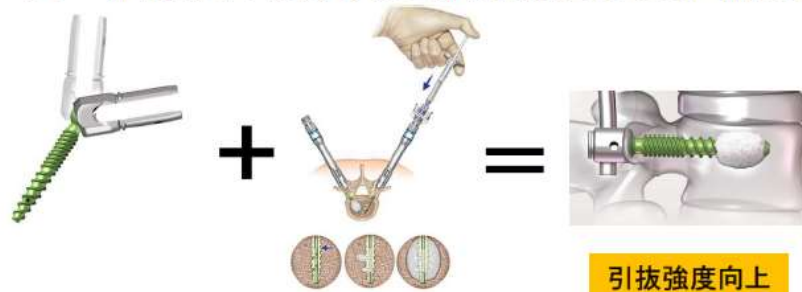
## 【品目1】Expedium Verse Fenestrated Screwシステム（脊椎内固定器具）

- 保険収載時はチャレンジ申請を行い、**最終的アウトカム**である再手術率を**有意に低下させるデータ**を示すことで、「**構造等における工夫**により」「合併症の発生が減少する」ことが「**客観的に示されている**」として、改良加算（ハ）5%が認められた
- 一方、費用対効果評価で指定された**比較対照品については比較研究がない**ことから、「現時点では追加的有用性についての**エビデンスに乏しく**（中略）**費用最小化分析は妥当**」とされた（中医協5.6.14 総-3）
- 異なる品目に対しても構造特性や優越性の程度から、高い蓋然性をもって追加的有用性が見込める場合であっても、エビデンスが認められないのであれば、世界的に**比較試験が少ない植込み型医療機器**は間接比較が困難なことから、**多くの場合に費用最小化分析となる**ことが想定される

### 製品特徴

出典：企業提出資料

- 本品は、先端に横穴が開いた中空構造を有しており、スクリュー挿入後にスクリューヘッドから骨セメントを注入することで固定性を向上させることが可能となる。



Verse Fenestrated Screw

- スクリューにあけた横穴からセメントを挿入することで挿入箇所からのセメント漏れを防ぐ

Vertecem V+ 骨セメント

- 適度な粘稠度のセメントを併用することで、海綿骨内において理想的な形でスクリューを留めらせる

引抜強度向上

### 臨床上的有用性

- 再手術 (Revision rate: インプラントに関連する再手術) に対して、横穴の無いスクリューと、本品を含む横穴付きスクリューの試験結果を用いたメタ解析の結果として、全患者群においては、横穴無しスクリュー (non-FS群) を用いた際の再手術率2.94%に対して、横穴付きスクリュー (FS群) では2.11%と低い傾向を示したが、有意差は認められなかった。一方で、骨粗鬆症の患者群では、non-FS群の再手術率4.85%に対し、FS群の再手術率1.33%と統計学的に有意に再手術率が低下した ( $P=0.009$ )。

スクリュー緩みのリスク

- FS(Fenestrated Screw)群はnon-FS群と比較して**有意に低い**(RR=0.22 (95%CI:0.09-0.56),  $p=0.001$ )

再処置率 (インプラントに関連する再手術)

- 全患者群においてFS群はnon-FS群と比較して低い傾向にあったが、有意差は認められなかった
- 骨粗鬆症患者群においてFS群はnon-FS群と比較して**有意に低い**(FS群1.33% (95%CI:0.56-2.09%  $I^2=24\%$ ), non-FS群4.8% (95%CI:2.31-7.39%  $I^2=0\%$ ),  $p=0.009$ )



# 公的分析が行った追加の解析について

## 詳細な説明と丁寧な議論がないと、見解の相違がなくなる

### 【品目2】Micra 経カテーテルペースングシステム(Micra AV)(植込み型リードレス心臓ペースメーカー)

- 保険収載時は「効果発現のため」の「作用機序が類似材料と大きく異なる」「**臨床上有用な新規の機序を有する**」に該当するとして、有用性加算 (イ) 10%が認められた。(下図参照)
- 費用対効果評価においては、植込み後12か月以降の**QOL値が測定されていない**ことから、植込み後**12か月以降のQOL値差分はない**とする公的分析が採用された。(中医協5.6.14 総-3)
- 企業はQOL値に差分に繋がる事象として、慢性期合併症発生率の低減に加え、経静脈ペースメーカー患者の**行動制限や不安感の低減**等の様々な要素について説明した。公的分析はそれらの影響を分析レポート提出後に確認したとのことだが、どのような確認を行ったかを**企業へ説明し、質問する機会がなかった**。
- 医療機器の特性としてデータが存在しないことが多いなか、医療機器の有用性を評価する上で、直接的なデータのみだけでなく、**蓋然性に基づく仮定**についても慎重な議論が必要である。公的分析が追加の解析を行った場合は**より詳細な説明と丁寧な議論**が必要なのではないか。

#### 製品特徴

出典:企業提出資料

- 本品は、カテーテルを用いて経皮的に留置するリード一体型のペースメーカーで初のデュアルチャンバ型である。
- 血流による本品の揺れを加速度計が感知し、心房の動きをセンシングすることで、心房の動きに合わせて心室をペースングできる(AV同期)。

#### 経静脈型ペースメーカー (本体+リード)



#### リード一体型ペースメーカー



#### 臨床上的有用性

- 本品と同じリード一体型ペースメーカーの市販後レジストリー (1817例) 及びグローバル治験の結果(726例)と、従来の経静脈型ペースメーカーのヒストリカルデータ(2,667例)を比較したところ、**12ヶ月における主要合併症の発生率について、リード一体型において63%のリスク低減が示される結果となった。**

	経静脈型	リード一体型
主要合併症発生率	7.6% (95%CI 6.6%–8.7%)	2.7% (95%CI 2.0%–3.7%)
	<b>HR 0.37</b> (95%CI 0.27–0.52; P<0.001)	

- 12施設75名の患者に対して本品を植込み、AV同期率を評価したところ、解析コホートでは平均値89.2%、中央値94.3%と高い同期率を示した。



# 費用対効果評価専門組織意見書に対する医療機器業界の見解

## 専門組織の意見

- これまで費用対効果評価の対象となった医療機器については、事例を踏まえつつ、医療機器の特性に応じた評価のあり方について検討を進める必要があるのではないか。

## A (4) その他

## 業界の見解

医療機器の特性に応じた評価のあり方を検討することに賛同する。

- ① 日本の制度環境に即した医療機器の分析ならびに評価のあり方が確立されることに期待する
- ② 医療機器の特性について十分な理解を担保する観点から、検討過程に業界が関与できるようにしていただきたい