

# 新規医薬品等の保険収載の考え方について

平成30年10月10日  
厚生労働省保険局

## 第3章 「経済・財政一体改革」の推進

### 4. 主要分野ごとの計画の基本方針と重要課題

#### （1）社会保障

##### **（負担能力に応じた公平な負担、給付の適正化、自助と共助の役割分担の再構築）**

新規医薬品や医療技術の保険収載等に際して、費用対効果や財政影響などの経済性評価や保険外併用療養の活用などを検討する。医療技術評価の在り方について調査・研究・検討を推進するとともに、そのための人材育成・データ集積・分析を推進する。薬剤自己負担の引上げについて、市販品と医療用医薬品との間の価格のバランス、医薬品の適正使用の促進等の観点を踏まえつつ、対象範囲を含め幅広い観点から、引き続き関係審議会において検討し、その結果に基づき必要な措置を講ずる。病院・診療所の機能分化・機能連携等を推進しつつ、かかりつけ機能の在り方を踏まえながら、かかりつけ医・かかりつけ歯科医・かかりつけ薬剤師の普及を進めるとともに、外来受診時等の定額負担導入を検討する。

## 高額薬剤・医療技術への対応

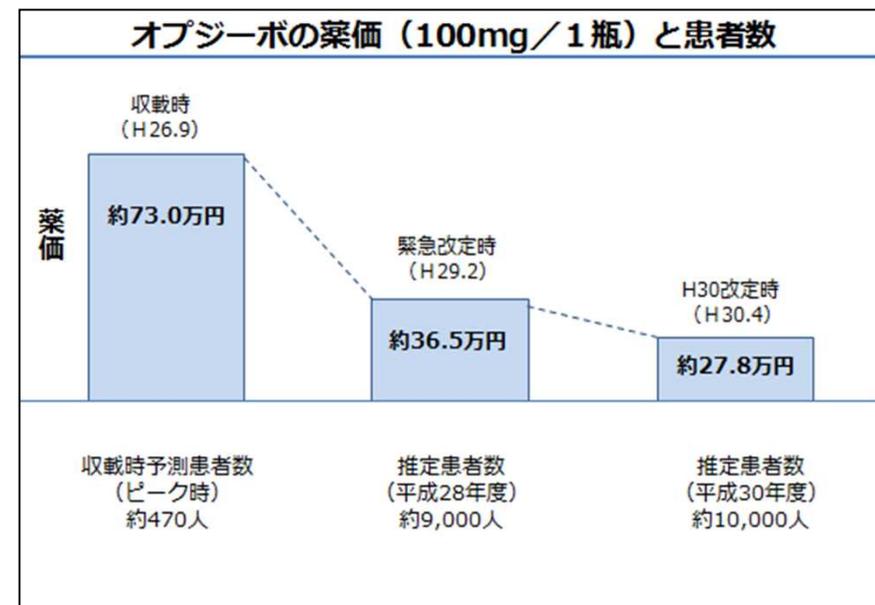
- 我が国では、これまで、国民皆保険の下、「有効性及安全性が確認された医療であって、必要かつ適切なものは保険適用する」ことを基本に対応。予算の制約や経済性により保険適用外とするような取扱いについては、こうした基本原則を変えることとなるが、国民の理解を得ることができるか。
- こうした基本原則を堅持しつつ、効能追加などの状況変化に迅速に対応するとともに、費用対効果評価の本格実施などにより、より適切な価格設定を行う努力を重ねていくことが適当ではないか。

### 《 医薬品 》

- 近年、ゲノム解析技術や検査技術の進展などに伴って、分子標的薬などの開発が進み、高額な医薬品が登場するようになってきている。これらの多くが対象疾患が希少がんや難病など患者数が限定的なケースであるが、一部には、オプジーボのように、効能追加され対象疾患が拡大することによって、医療費（薬剤費）に与えるインパクトが大きい医薬品が存在する。
- こうした状況を受けて、平成30年度の薬価制度の抜本改革において、効能追加等に伴う市場拡大に対して速やかに薬価を引き下げるルールを導入したほか、試行実施してきた費用対効果評価について、その結果を加味した価格調整を本年4月に実施した。さらに、本格実施に向けて、引き続き検討し、今年度中に結論を得ることとしている。
- なお、費用対効果評価については、他の先進諸国でも取組みが進められているが、社会保険方式を採用しているフランス、ドイツ、オランダにおいては、価格交渉のみに利用している。税方式を採用し、保険償還可否にも利用しているイギリスでは、患者団体の反発を踏まえ、別途、患者のアクセスを改善する政策を導入している。

### 《 医療技術 》

- 医療技術についても、ロボット支援下内視鏡手術や粒子線治療といった高額な技術が臨床応用されているが、平成30年度診療報酬改定において、既存技術と同等程度の医学的有効性及び安全性を有すると認められた疾患への適用については、既存技術と同じ診療報酬点数で保険適用を行った。



※ 用法用量の変更に伴う再算定により、平成30年11月以降は約17万円/100mg瓶

## 1. 新規医薬品等の保険収載に関する基本的な考え方について

### (現状)

- 我が国では、これまで、国民皆保険の下、「有効性や安全性が確認された医療であって、必要かつ適切なものは保険適用する」ことを基本に対応している。
- 現在、四半期再算定などにより効能追加などの状況変化に迅速に対応するとともに、最適使用推進ガイドラインを踏まえた使用の最適化などに取り組んでおり、また、今後、費用対効果評価の本格実施に向けて、その具体的内容について検討することとしている。

### (これまでの医療保険部会での主な意見)

平成29年11月24日	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 高額だけれども非常に有効性の高い薬について、貧富の差によって使える、使えないなどということになったら公的保険の意味がなく、そういうものは保険を適用していくという理念を貫くべき。ただ、財政がもたなくなるので、その分、症状の軽い方に使う薬等については少し保険適用から外す等厳しくすることでバランスをとっていかないといけないのではないか。</li></ul>
平成30年4月19日	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 費用対効果評価を保険収載の際に勘案するかどうかは、あくまで中医協での議論を尊重すべき。試行の結果検証等を十分に行うことが先行であり、保険収載の可否に用いるかどうかはその後の議論。</li><li>○ 有効性、安全性がきちんと確認された医療、医薬品で必要かつ適切なものが保険適用されることは、医療の質向上に結びつくものなので、それを予算の制約や経済財政により保険適用外にするというのはいかがなものか。</li></ul>

## 現在の薬価制度での高額医薬品への対応

- 効能・効果の追加等により年間販売額が極めて大きく拡大した医薬品であって、通常の薬価改定における再算定の検討に間に合わなかったケースに対応するため、緊急的に薬価の見直しを行う特例措置を平成28年に実施。あわせて、最適使用推進ガイドラインにより、革新的な新規作用機序を有する医薬品の使用を最適化。
- その後の薬価制度の抜本改革を経て、現行の薬価制度では、高額医薬品について以下のように一定の対応がとれるようになっている。
  - 国民皆保険の下、「有効性や安全性が確認された医療であって、必要かつ適切なものは保険適用する」ことを基本とし、薬価については以下のように対応。
    - (1) 新規収載する医薬品が既存のものと同等の場合は同等の薬価とする（類似薬効比較方式）。比較する既収載医薬品がない場合は、原価計算方式で薬価を算定。
    - (2) 薬価改定の際、実勢価を踏まえて薬価を引き下げ。
    - (3) 保険収載後の効能追加等による市場規模の拡大に応じて市場拡大再算定等を実施して薬価を改定。
  - 平成30年度の薬価制度の抜本改革で、市場規模の拡大に応じて速やかに薬価を改定できるよう四半期再算定の仕組みを導入。
  - 革新性が高く市場規模が大きい品目については、費用対効果評価を試行的に行い、その結果に基づいて価格調整を実施。
- また、費用対効果評価については、今後の本格実施に向け、試行的実施において明らかになった技術的課題への対応策を整理した上で、具体的内容等について本年度中に結論を得ることとしている。

## 医薬品等の特性に応じた対応

- 高額医薬品等の特性や高額となる要因（対象疾患、患者数、投与期間、適応拡大や競合品の状況等）は様々であり、現在の薬価制度では、それらの特性等に応じて対応している。

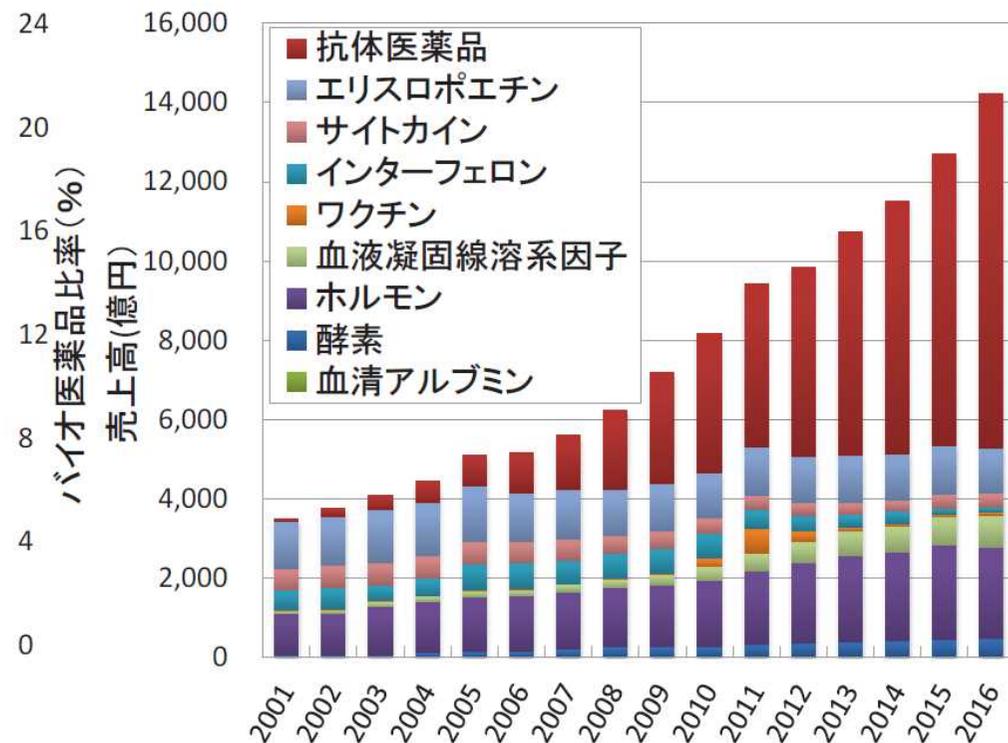
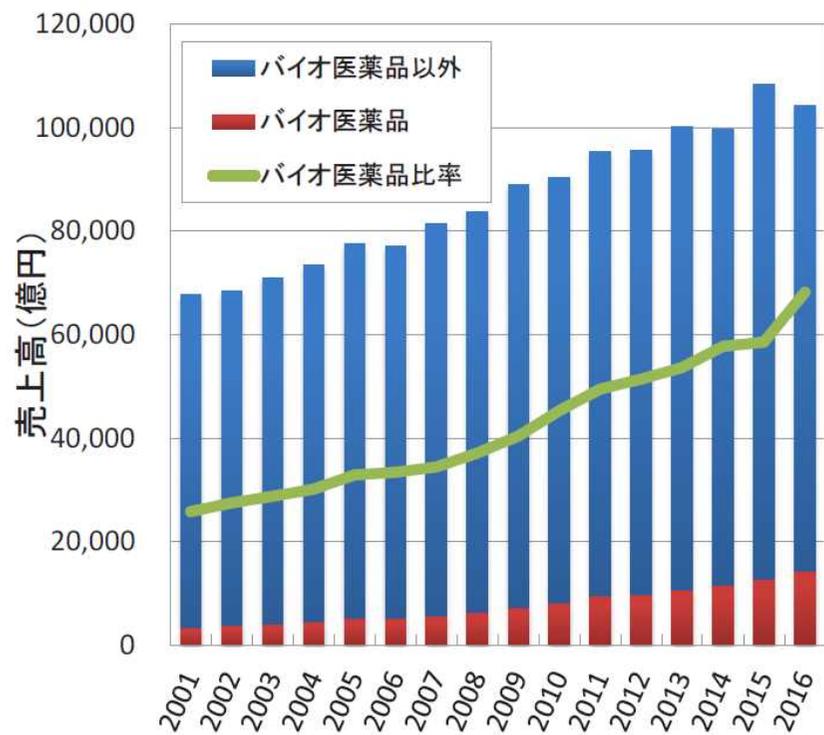
(例)

- 製造コストが大きいバイオ医薬品であって、効能追加が見込まれる医薬品（抗がん剤など）
  - 年間販売額が極めて大きい品目への市場拡大再算定の特例  
効能追加等に対応した四半期再算定  
最適使用推進ガイドラインを踏まえた使用の最適化 などにより対応
- 高額であるが、疾患の治癒（患者数の減少）につながり、経時的に使用量が減少する医薬品（C型肝炎治療薬など）
  - 年間販売額が極めて大きくなった場合は、市場拡大再算定の特例 などにより対応
- 患者数が限定的で単価の高い、難病や補充療法に用いる医薬品
  - （使用量が少なく、一般に、他の新薬と比較し財政的な影響は必ずしも大きくない）  
（効能追加等があれば、四半期再算定などにより対応）
- 生活習慣病など対象患者が多い医薬品
  - 年間販売額が極めて大きくなった場合は、市場拡大再算定の特例  
効能追加等に対応した四半期再算定  
競合品、後発品の登場による価格競争及び実勢価改定による薬価の引下げ などにより対応

- 今後、例えばCAR-T細胞治療に用いる製品など、高額な製品の上市が見込まれており、同様に対応を図る必要がある。また、現在の薬価制度等では対応が難しい製品が今後登場する可能性もある。

# バイオ医薬品の市場推移

## 国内バイオ医薬品・抗体医薬品市場の推移

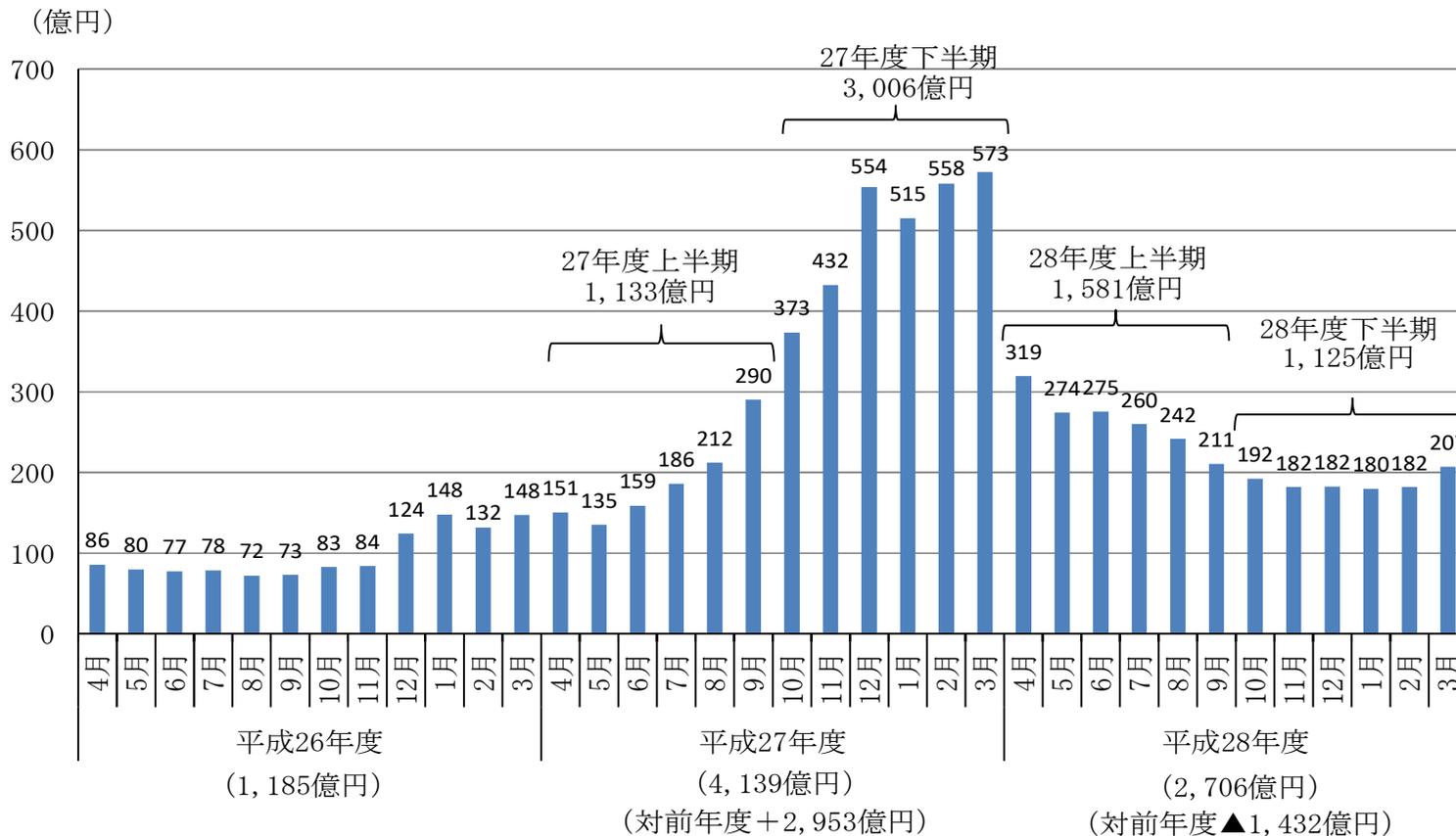


(出典：医薬産業政策研究所リサーチペーパー No.71)

## C型肝炎治療薬について

- 平成26年以降、C型肝炎の治療が期待できる新しい作用機序の医薬品が複数上市され、「抗ウイルス剤」区分の薬剤料が大幅に増加した。
- その後、ハーボニー等のC型肝炎治療薬の再算定を含む平成28年度薬価改定、使用量の減少等により薬剤料は減少。（なお、ハーボニー等は試行的な費用対評価の対象に選定。）

### 調剤医療費のうち薬効分類「抗ウイルス剤」の薬剤料の推移



(出典：平成28年度医療費の動向、厚生労働省)

## 再生医療等製品

- 保険収載された再生医療等製品には単価が高いものがあるが、対象患者数は限定的。

販売名（有効成分）	主な適応症	薬価・材料価格	投与患者数の企業予測 (収載時点での予測)
テムセルHS注（ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞）	造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病	10.8mL 1袋 約87万円 (注1)	260人 (H27.11収載)
ハートシート（ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート）	標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全	Aキット 636万円 Bキット 168万円 (注2)	25人 (H27.11収載)

注1 患者の体重等にもよるが、標準的な使用の場合、1,400～2,100万円程度。

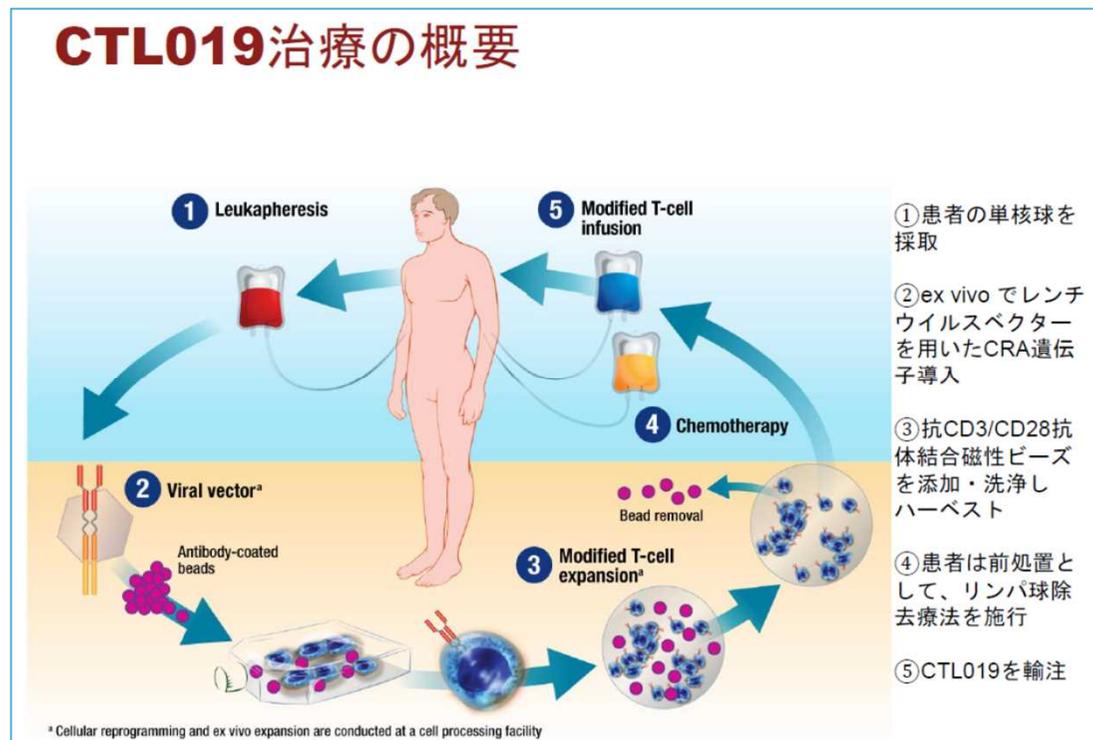
注2 Aキットは患者の細胞の採取、培養等に、Bキットはシートの調製等に使用。標準的な使用の場合、あわせて1,500万円程度。

※ なお、本年4月に、白血病等の治療に用いる再生医療等製品が承認申請され、現在承認審査中（いわゆるCAR-T細胞治療に用いるもの。ノバルティスファーマ社が申請。）。

また、脊髄損傷の治療に用いる再生医療等製品が6月に承認申請され、同様に承認審査中（自己骨髄間葉系幹細胞。札幌医科大学のシーズを元にニプロ株式会社が申請。）。

# いわゆるCAR-T細胞治療について

- 患者由来の免疫細胞（T細胞）に遺伝子組換えを行い、がん細胞を捉えて攻撃しやすくした上で、患者の体内に戻して白血病等の治療に用いるもの。
- 小児・若年成人の再発・難治性ALLに関する臨床試験において奏効率が約8割であったこと等を受け、治療法が確立していない重篤・致命的な疾患に対する治療として期待されている。
- CAR-T細胞治療に用いられる キムリア (Kymriah)は、米国及び欧州で承認済み。日本では本年4月に承認申請され、承認審査中。



- ① 患者の単核球を採取
- ② ex vivo でレンチウイルスベクターを用いたCRA遺伝子導入
- ③ 抗CD3/CD28抗体結合磁性ビーズを添加・洗浄しハーベスト
- ④ 患者は前処置として、リンパ球除去療法を施行
- ⑤ CTL019を輸注

(出典：ノバルティスファーマ株式会社提供資料)

## (参考) 米国での承認の概要

承認日	2017年8月承認 (2018年5月に効能追加)
効能・効果	小児及び若年成人における再発性又は難治性B細胞急性リンパ芽球性白血病(ALL) 成人における再発性又は難治性大細胞型B細胞リンパ腫(DLBCL)
用法	単回静脈投与
価格	5,560万円 (ASP、2018年7月、1ドル=111円で換算)

※ 日本での申請時の効能効果は、小児を含む25歳以下におけるCD19陽性再発・難治ALL及び成人におけるCD19陽性再発・難治DLBCL。これらの効能に係る国内での投与対象患者数は250例程度と予測されている。

## 2. 費用対効果評価について

### (現状)

- 現在、新医薬品は、承認後、原則として60日以内、遅くとも90日以内に薬価収載する（新医療機器については保険適用希望書提出後5～6ヶ月以内に保険適用区分を決定する）こととしている。
- 平成28年度より費用対効果評価の試行的導入を行っている。費用対効果評価の結果は価格調整に用いることとし、保険償還の可否の判断には用いていない。費用対効果評価の実施には1.5-2年の期間を要している。
- 費用対効果評価の本格実施に向けて、試行的実施の結果も踏まえ、その具体的内容について引き続き検討し、平成30年度中に結論を得ることとしている。

### (これまでの医療保険部会での主な意見)

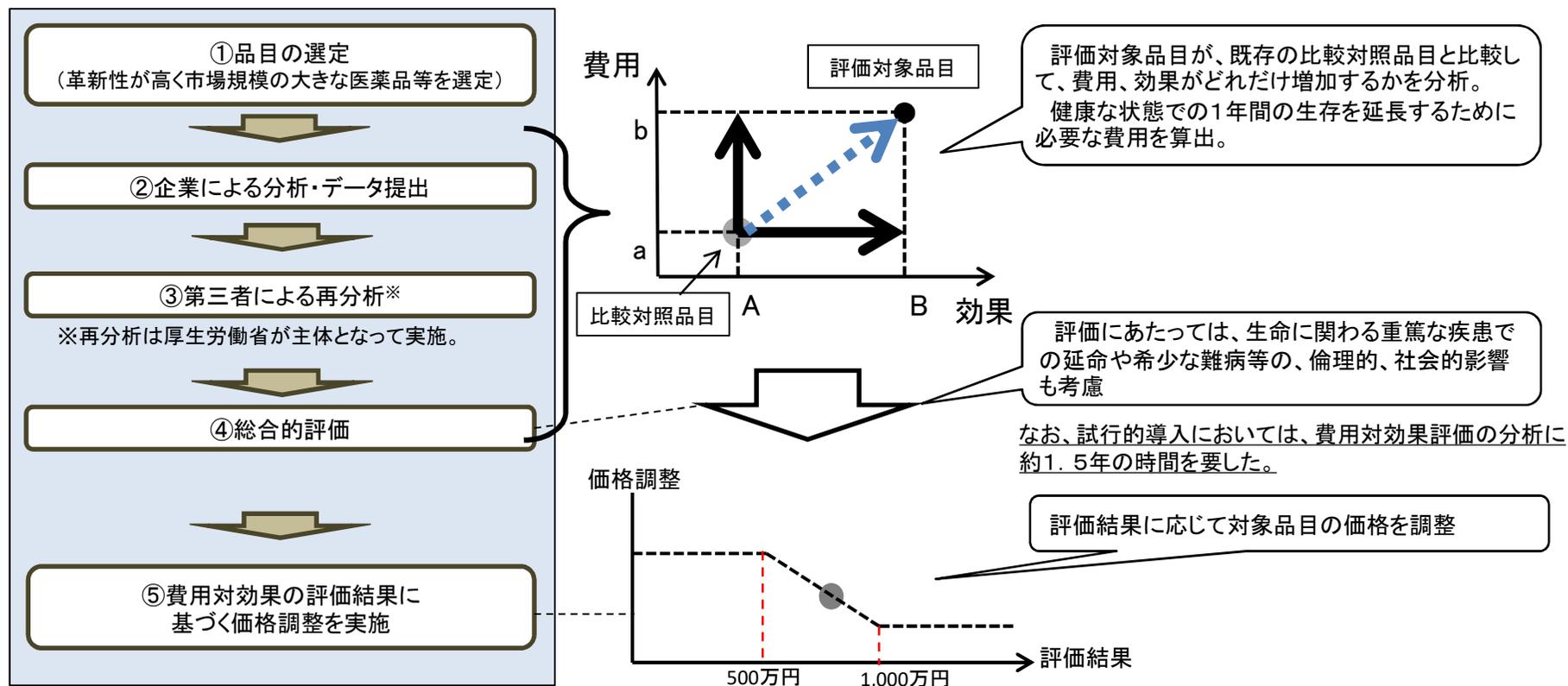
平成30年4月19日

- 費用対効果評価を保険収載の際に勘案するかどうかは、あくまで中医協での議論を尊重すべき。試行の結果検証等を十分に行うことが先行であり、保険収載の可否に用いるかどうかはその後の議論。

## 費用対効果評価の試行的実施の概要

- 市場規模の大きい医薬品・医療機器を対象に、費用対効果を分析し、その結果に基づき薬価等を改定する仕組みを平成28年4月より試行的に実施した。
- 我が国では、国民皆保険の下、有効性・安全性等が確立された医療は基本的に保険適用していることから、費用対効果評価の結果は、価格調整に用いることとし、保険償還の可否の判断には用いないこととした。
- 本格実施に向けて、試行的実施の結果も踏まえ、その具体的内容について引き続き検討し、平成30年度中に結論を得る。

### 【費用対効果評価の手順】



## 費用対効果評価の試行的実施の対象品目について

### <対象品目>

	医薬品（7品目）		医療機器（6品目）	
類似薬効（機能区分）比較方式	ソバルディ （ギリアド・サイエンシズ）	C型慢性肝炎	カワスミNajuta胸部ステントグラフトシステム （川澄化学工業）	胸部大動脈瘤
	ハーボニー （ギリアド・サイエンシズ）		アクティバRC （日本メトロニック）	振戦等
	ヴィキラックス （アッヴィ合同会社）		バーサイズDBSシステム （ボストン・サイエンティフィック ジャパン）	
	ダクルインザ （ブリストル・マイヤーズ）		Brio Dual 8ニューロステイミュレータ （セント・ジュード・メディカル）	
	スンベプラ （ブリストル・マイヤーズ）			
原価計算方式	オプジーボ （小野薬品工業）	悪性黒色腫等	ジャック （ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）	外傷性軟骨欠損症
	カドサイラ （中外製薬）	HER2陽性の再発乳癌等	サピエンXT （エドワーズライフサイエンス）	重度大動脈弁狭窄症

### <選定基準>

#### ① 除外要件

イ 指定難病、血友病及びHIV感染症、 □ 未承認薬等検討会議を踏まえた開発要請等

#### ② 抽出要件

イ 平成24年度から平成27年度までの間に保険適用、かつ、類似薬効（機能区分）比較方式のうち、

i **補正加算の加算率が最高**

ii 10%以上の補正加算が認められたものの中で、**（ピーク時予測売上高【医薬品】／保険償還価格【医療機器】）が最高**

□ 平成24年度から平成27年度までの間に保険適用、かつ、原価計算方式のうち、

i **営業利益率の加算率が最高**

ii 10%以上の加算が認められたものの中で、**（ピーク時予測売上高【医薬品】／保険償還価格【医療機器】）が最高**

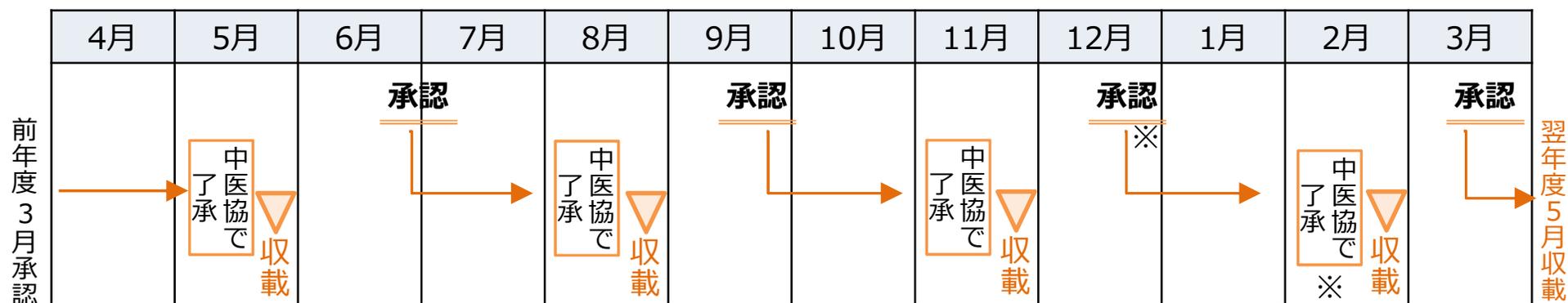
※ これによって選定された品目の薬理作用類似薬及び同一機能区分に該当する医療機器も対象

(参考)

## 医薬品、新規医療材料の収載時期

- 新医薬品は、年4回定期的に薬価収載の機会を設けており、収載時期は承認後、原則として60日以内、遅くとも90日以内に収載することとしている。
- 新機能、新技術の評価を要する新規医療材料も、年4回保険収載の機会を設けている。

### 新医薬品の承認及び保険収載の時期



※ 翌年度が診療報酬改定年の場合は1月承認、4月収載

## イギリスにおける医薬品の償還について

- 医薬品がイギリスの公的医療保障制度(NHS)のもとで償還されるためには、評価機関であるNICEが行う評価において、費用に見合った価値があると判断される必要がある。
- 2008年前後から、NICEの評価結果による医薬品へのアクセスの悪化に反発した患者団体などにより、大規模なデモが盛んに行われた。
- 対応を迫られた保健省は、2009年にPatient Access Scheme (PAS)、2011年にCancer Drug Fund (CDF) を設ける等により、患者のアクセスを改善する政策を導入した。

### <Patient Access Scheme (PAS)>

- 費用対効果を改善し、患者が画期的新薬へのアクセスを享受することを可能にするために、企業が提案するスキーム。
- NICEにおいて費用に見合った効果が認められないと評価され、NHSのもとでの使用が実質的に出来ないと思込まれる医薬品について、企業が医薬品の価格の引き下げや薬剤費の払戻しなどを行うことで、NHSのもとでの償還が認められるようになる

### <Cancer Drug Fund (CDF)>

- NICEの評価により使用を制限された抗がん剤等について、公費で助成し、患者アクセスを確保するために設立された基金。
  - 現在、NICEの評価においては、NHSのもとでの使用を「推奨／非推奨」とする評価に加えて、「CDFでの使用を推奨する」とする評価が設けられている。
- CDFにおいては、支出が基金の予算金額を大幅に超過する状況が続き、対象となる医薬品の品目数や効能・効果を削減して対応した。それでもなお、超過に歯止めがかからなかったため、2016年7月以降、CDFからの償還期間を最長2年間とする、年間予算額を支出額が超過した場合には企業にリベートを請求する等の取組を行っている。

出典：医療経済研究機構「薬剤使用状況等に関する調査研究報告書」(平成29年3月)

JPMA NEWS LETTER 2015 No.166

健保連海外医療保障(No. 113 2017年3月)

### 3. 保険外併用療養について

#### (現状)

- 保険外併用療養としては、保険導入のための評価を行う評価療養等と保険導入を前提としない選定療養がある。
- 保険外併用療養では、保険適用外部分は患者から料金徴収が可能とされている。

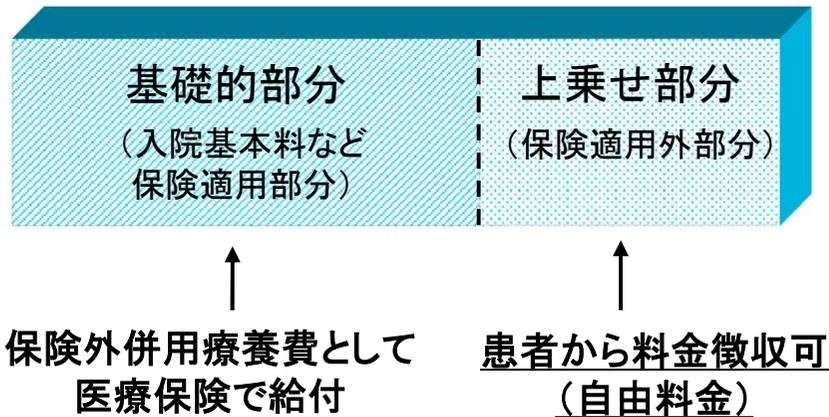
# 保険外併用療養費制度について

平成18年の法改正により創設  
(特定療養費制度から範囲拡大)

## ○ 保険診療との併用が認められている療養

- ① 評価療養
  - ② 患者申出療養
  - ③ 選定療養
- ① ② } 保険導入のための評価を行うもの
- ③ → 保険導入を前提としないもの

### 保険外併用療養費の仕組み [評価療養の場合]



※ 保険外併用療養費においては、患者から料金徴収する際の要件(料金の掲示等)を明確に定めている。

## ○ 評価療養

- ・ 先進医療(先進A:40技術、先進B:60技術 平成28年6月時点)
- ・ 医薬品、医療機器、再生医療等製品の治験に係る診療
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医薬品、医療機器、再生医療等製品の使用
- ・ 薬価基準収載医薬品の適応外使用  
(用法・用量・効能・効果の一部変更の承認申請がなされたもの)
- ・ 保険適用医療機器、再生医療等製品の適応外使用  
(使用目的・効能・効果等の一部変更の承認申請がなされたもの)

## ○ 患者申出療養

## ○ 選定療養

- ・ 特別の療養環境(差額ベッド)
- ・ 歯科の金合金等
- ・ 金属床総義歯
- ・ 予約診療
- ・ 時間外診療
- ・ 大病院の初診
- ・ 大病院の再診
- ・ 小児う蝕の指導管理
- ・ 180日以上入院
- ・ 制限回数を超える医療行為

# 參考資料

# オプジーボに係る平成28年度緊急薬価改定の概要

## 背景

- 近年、一部の抗がん剤など単価が高く、市場規模の極めて大きな薬剤が登場。これらの中には、効能・効果の追加や用法・用量の拡大により当初の想定を超え、大幅に市場が拡大するような薬剤が見られる。
- このような大幅に市場が拡大する薬剤は、従来2年毎の薬価改定で、再算定（薬価の引下げ）を行ってきたが、薬価収載の時期によって、再算定を受けるまでの期間が2年を超える場合があり、平成28年度に緊急的に薬価の見直しを行ったもの。

## 緊急改定の基準の概要

### ①対象

ア H27.10～H28.3に効能追加等されたもの

イ H28年度の前年予想年間販売額（薬価ベース）が、**1,000億円を超え**、かつ、前年予想販売額の**10倍**以上

### ②算定

**市場拡大再算定の特例**の算式を適用して薬価の見直しを行う

（参考：市場拡大再算定の特例の概要）

①年間販売額が1,000億円を超え1,500億円以下、かつ前年予想販売額の1.5倍以上 →最大25%引下げ

②年間販売額が1,500億円を超え、かつ前年予想販売額の1.3倍以上 →最大50%引下げ

## 緊急改定の対象品目

対象品目	予想販売額※	改定前薬価		改定後薬価	変化率
オプジーボ点滴静注 (小野薬品工業)	収載時：31億円	20mg1瓶	150,200円	75,100円	▲50%
	H28年度：1,500億円超	100mg1瓶	729,849円	364,925円	▲50%

※収載時：薬価収載時におけるピーク時（2年度）の企業予想販売額（H26.9.2収載）

H28年度：企業予想年間販売額（1,260億円）に対し、流通経費、消費税、乖離率、今後の効能追加を考慮し厚生労働省において推計

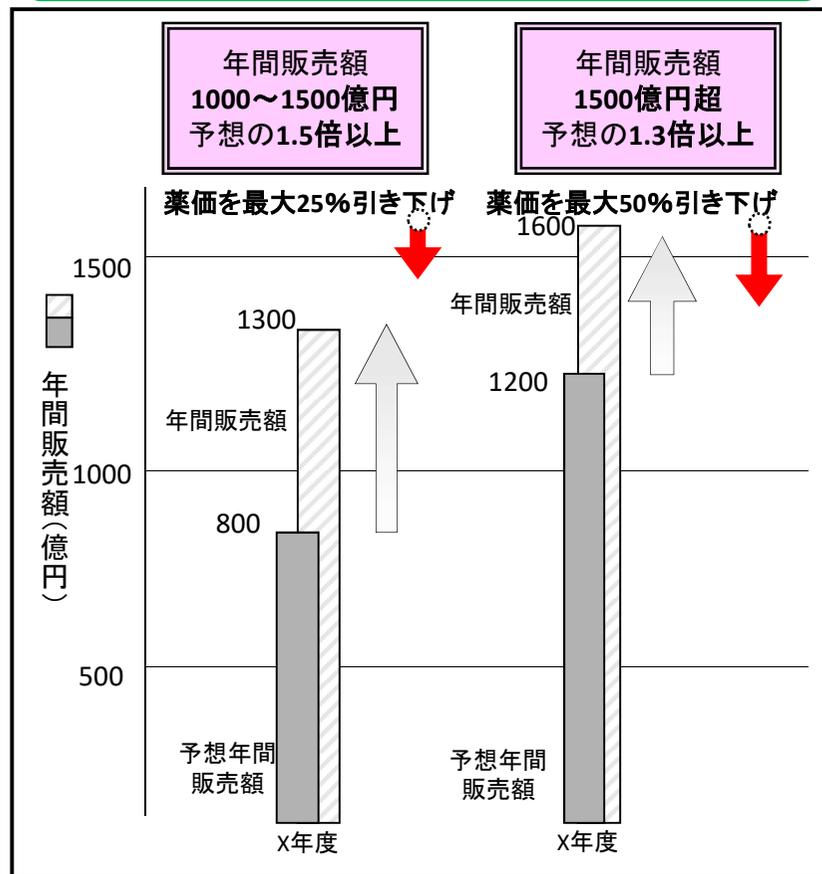
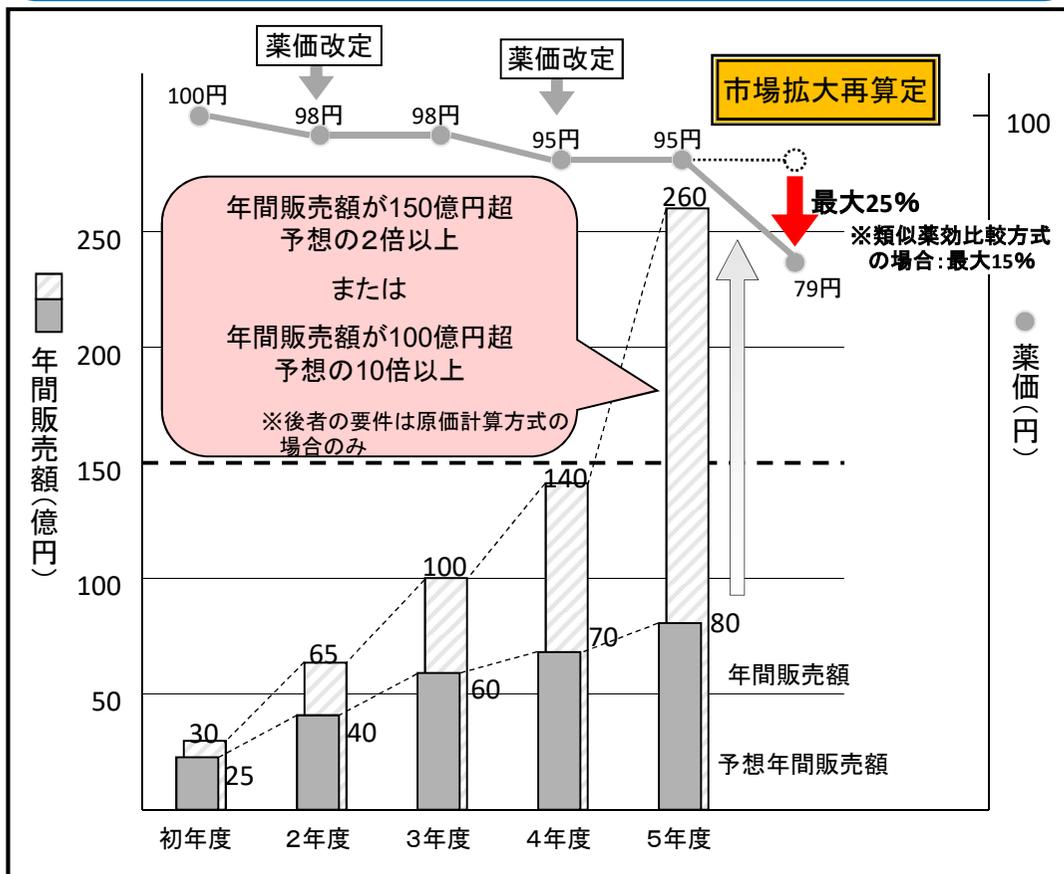
告示日：平成28年11月24日

適用日：平成29年2月1日

## 市場拡大再算定

【市場拡大再算定】(平成12年度～) ※通知によりルールとして明確化  
年間販売額が予想販売額の一定倍数を超えた場合等には、  
薬価改定時に価格を更に引き下げる。

【市場拡大再算定の特例】(平成28年度～)  
年間販売額が極めて大きい品目の取扱いに係る特例。



【薬価改定時以外の再算定】(平成30年度～)  
効能追加等がなされた品目については、市場規模350億円超のものに限り、新薬収載の機会(年4回)を活用し、上記の算式に従い薬価改定を行う。

## 市場拡大再算定の特例の対象品目

(年間販売額が1000億円超 かつ 販売額が予想を一定以上を超えているもの)

### ○年間販売額が1,500億円を超えたもの

品名	適用	薬価収載日	企業	市場規模予測※1	改定前薬価※2	改定後薬価※2
ソバルディ錠 (C型肝炎治療薬)	H28改定時	H27.5.20	ギリアド・サイエンシズ	987億円 (1.9万人)	約62,000円	約42,000円
ハーボニー配合錠 (C型肝炎治療薬)	H28改定時	H27.8.31	ギリアド・サイエンシズ	1,190億円 (1.8万人)	約80,000円	約55,000円

(注) ハーボニー配合錠はソバルディ錠と同一有効成分を含むため、類似品として再算定の対象となっている。

### ○年間販売額が1,000億円を超えたもの

品名	適用	薬価収載日	企業	市場規模予測※1	改定前薬価※2	改定後薬価※2
アバスチン点滴静注用 (抗がん剤)	H28改定時	H19.6.8	中外製薬	301億円 (1.8万人)	約180,000円	約160,000円
プラビックス錠 (抗血小板剤)	H28改定時	H18.4.28	サノフィ	534億円 (67万人)	約280円	約200円
ネキシウムカプセル (消化性潰瘍剤)	H30改定時	H23.9.12	アストラゼネカ	527億円 (550万人)	約150円	約120円
タケキャブ錠 (消化性潰瘍剤)	H30改定時	H27.2.24	武田薬品工業	620億円 (180万人)	約160円	約130円

(注) タケキャブ錠はネキシウムカプセルを比較薬として算定されたため、類似品として再算定の対象となっている。

(参考) 市場拡大再算定の特例の対象要件

- ①年間販売額が**1,000億円を超え1,500億円以下**、かつ予想販売額の**1.5倍以上**
- ②年間販売額が**1,500億円を超え**、かつ予想販売額の**1.3倍以上**

※1：薬価収載時に企業が予測した患者数及び販売額である。

※2：薬価は汎用されているものを記載している。

## 効能追加等に伴う市場拡大への対応

### 改革の方向性

- 効能追加等がなされた医薬品について、一定規模以上の市場拡大のあった場合、新薬収載の機会（年4回）を最大限活用して、薬価を見直すこととする。

#### <データ抽出する医薬品の範囲>

- 一定規模以上の市場拡大のあった品目を捕捉するため、次に掲げる品目について、NDBにより市場規模を確認することとする。

	データ抽出を行う医薬品	備考
①	効能追加等がなされた医薬品	効能追加等により市場が大幅に拡大するものの把握のため
②	収載時に、2年度目の販売予想額が100億円*1又は150億円*2以上とされたもの	発売当初から当初予測を超え大幅に市場拡大するものの把握のため

\*1原価計算方式 \*2類似薬効算定方式

①及び②それぞれについて、2年間の市場規模の把握を行う。

#### <再算定の対象となる医薬品>

- 上記の医薬品のうち、現行の市場拡大再算定（特例を含む。）の要件に該当するものについて、現行の算式に従い再算定を行うこととする。ただし、4半期毎の薬価の再算定は、医療機関・薬局、卸、製薬企業に極めて大きな負担がかかるため、一定程度、市場規模の大きなものとして、年間販売額350億円を超える医薬品を対象とする。
- あわせて、用法用量変化再算定についても、新薬収載の機会（年4回）を活用する。

## 最適使用推進ガイドライン

- 昨今、革新的かつ非常に高額な医薬品が登場しており、その使用の最適化を図っている。
  - 革新的な新規作用機序を有する医薬品は、薬理作用や安全性プロファイルが既存の医薬品と明らかに異なることがあるため、「最適使用推進ガイドライン」を作成。当該ガイドラインを踏まえた内容を保険適用上の留意事項として通知。
  - これにより、有効性及び安全性に関する情報が十分蓄積するまでの間、①当該医薬品の恩恵を強く受けることが期待される患者に対して使用するとともに、②副作用が発現した際に必要な対応を迅速にとることが可能な一定の要件を満たす医療機関で使用。

薬剤	ガイドライン
アテゾリズマブ	• 非小細胞肺癌
アベルマブ	• メルケル細胞癌
アリロクマブ	• 家族性高コレステロール血症、 高コレステロール血症
エボロクマブ	• 家族性高コレステロール血症、 高コレステロール血症
デュピルマブ	• アトピー性皮膚炎
デュルバルマブ	• 非小細胞肺癌

薬剤	ガイドライン
ニボルマブ	• 悪性黒色腫 • 非小細胞肺癌 • 胃癌 • 頭頸部癌 • 古典的ホジキンリンパ腫 • 腎細胞癌 • 悪性胸膜中皮腫
ペムブロリズマブ	• 悪性黒色腫 • 非小細胞肺癌 • 尿路上皮癌 • 古典的ホジキンリンパ腫