

**中央社会保険医療協議会  
意見陳述資料**

**費用対効果評価に関する意見**

**2017年10月11日  
日本製薬団体連合会  
日本製薬工業協会**

## はじめに

- 試行的導入における対象品目を有する企業は、再分析や総合的評価の方法、薬価の調整方法等が明らかになっていない中で分析結果を提出し、照会事項への回答、費用対効果評価専門組織への説明などに鋭意対応している。
- 費用対効果評価に係る検討は、試行対象企業に大きな負荷がかかっていることを十分に考慮しつつ、我が国の薬価基準制度との整合性を踏まえた、慎重かつ丁寧な議論が必要である。

# 費用対効果評価に対する原則的な考え方

- 我が国の薬価基準制度における医薬品の価値評価が、費用対効果評価の導入によって損なわれないこと
- 下記の点が維持・確保されること

## 現行制度の基本的考え方・骨格の維持

- ・ 皆保険・保険償還制度／薬価基準制度

## 三大前提が守られること（これらが生じないこと）

- ・ イノベーションの阻害／患者のアクセス制限／ドラッグ・ラグの助長

## 製薬業界の議論への参画

- ・ 意見・要望を反映し得る機会の十分な確保

# 費用対効果評価の活用に対する考え方

- 現行の薬価基準制度において、既に医療技術評価の概念は反映されており、類似薬効比較方式における補正加算等で価値評価がなされていると認識している。**
- 費用対効果評価は、薬価基準制度における新薬の価値評価のあくまで補足的な手法として、限定的に位置付けられるべきもの**と考える。
- 具体的には、薬価算定において一定率以上の加算が適用され、かつ、ピーク時売上高が一定額以上になると予測される品目を対象とし、薬価収載から一定期間後に、加算率の補整(引上げ・引下げ双方)に限定して用いるべきである。**

# 総合的評価(アプレイザル)における ICER(増分費用効果比)の評価基準の設定

○ICERの値は、多くの前提条件(※)を設定した上で、シミュレーションによって導き出される結果であることから、絶対的な数値ではないことに留意した取り扱いが必要である。

(※) QOL値、総医療費、生存年数、病態の悪化率、など

○試行的導入におけるICERの評価基準については、支払い意思額(仮称)の調査を基に設定している国はないことや、過去の文献や諸外国の状況等を基に設定されることとなった点を踏まえ、慎重に検討を行う必要がある。

○ICERの評価基準については、試行的導入における評価基準や今後予定されている新たな調査結果を踏まえつつ、疾患特性や重症度等を考慮した画一的ではない柔軟な検討が引き続き必要である。

## 総合的評価(アプレイザル)における 倫理的・社会的影響等に関する評価

- 総合的評価(アプレイザル)においては、ICERによる評価に加え、倫理的・社会的影響等の観点からの評価についても十分に反映すべきである。
- 考慮すべき要素については、試行的導入における検証を踏まえつつ、対象品目の特性に応じた検討が引き続き必要である。

## 薬価の調整範囲

- 費用対効果評価の分析結果が絶対的な数値ではないこと、我が国の薬価基準制度との整合性を踏まえ、薬価の調整範囲については、加算率の補整に限定すべきであり、加算前の価格を下回る調整については、断じて容認できない。

## 試行におけるプロセス上の課題に対する提案

- 企業が分析を開始するにあたって、事前に当局や費用対効果評価専門組織と十分に相談を行い、丁寧な議論を通じて、分析の方向性を明確にすることが必要である。
- 企業によるデータ作成期間については、対象品目によって大きく異なることから、標準的な処理期間を設定する際には、慎重かつ丁寧な検討が必要である。
- 再分析の結果等について、対象企業との十分な議論が出来る機会を確保するとともに、費用対効果評価専門組織の審議において、企業側の十分な陳述時間が必要である。
- 分析ガイドライン同様、総合的評価に関して、標準的な指針の策定が必要である。

# 総括

- 費用対効果評価に係る検討は、試行対象企業に大きな負荷がかかっていることを十分に考慮しつつ、我が国の薬価基準制度との整合性を踏まえた、慎重かつ丁寧な議論が必要である。
- 費用対効果評価は、薬価基準制度における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位置付けられるべきものであると考える。
- 総合的評価については、他国に同様の例がないICERによる評価基準の設定について慎重に検討を行うとともに、倫理的・社会的影響等に関する観点からの評価も十分に反映すべきである。
- 薬価の調整範囲は、薬価算定における加算率の補整に限定すべきであり、加算前の価格を下回る調整については、断じて容認できない。

# (参考) 試行的導入の対象品目を有する企業からの意見

## 総括

- ・試行プロセス等について総括する場を作り、本格導入の制度設計に反映させるべきと考える。

## 企業分析における対応について

- ・各社は国内では先行研究が少なく、データベースが整っていない、また専門家が不足している等、費用対効果評価の環境が整っていない中、出来る限りのリソースを活用し対応している。
- ・現状では各社が費用をかけてデータ収集しているが、本来的には、当局が標準化できるデータを持っているのであれば、それを公表して企業が使えるようにすることで平準化を図ることが必要である。

## 分析結果の評価について

- ・再分析の方針は明確にされておらず、また、企業側が追加分析として対応すべきことと再分析班が実施すべきことを明確にしておくことが重要である。
- ・社内リソースの確保や、費用効果分析を外部委託している場合には追加分析のために追加費用・時間が必要になるため、照会理由の明確化を図ること等により、企業側も適切な対応ができる。
- ・再分析の結果に対して、当該企業が相違点を検証するための必要なデータと十分な検討時間を確保いただき、双方向に議論が出来る場が必要である。
- ・総合的評価(アプレイザル)を実施する際は、対象疾患の医学専門家を含む有識者のもとで、企業による分析結果と再分析結果の相違点を踏まえた評価が行われることを希望する。
- ・ICERの評価においては、単一の基準(閾値)で評価を行うのではなく、疾患特性や重症度を考慮すべきである。

## 薬価調整について

- ・試行においては不確定な事項が多く、またデータ、人的リソース、時間的限界がある中で行なわれたものである。閾値についても十分な検討がなされないまま設定されるものであり、費用対効果評価結果の薬価への反映は極めて限定的に行なうべきと考える。

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

# 費用対効果評価に対する意見

2017年10月11日

米国研究製薬工業協会（PhRMA）

在日執行委員会委員長

パトリック・ジョンソン



# 費用対効果評価の制度化に向けた懸念

---

- 費用対効果評価を導入した国では、イノベーションが阻害され、必要な医薬品へのアクセス遅延が生じており、患者が不利益を被っている。
- たとえ保険償還の可否の判断に費用対効果評価を用いなかったとしても、薬価の予見性が大きく損なわれれば、イノベーションの阻害やアクセスの遅延が生じる恐れがある。
- 仮に日本で費用対効果評価を本格導入するのであれば慎重かつ限定的に導入することを検討すべきであり、現行の薬価制度との整合性を損なう形での費用対効果評価の本格導入に強く反対する。

# 費用対効果評価の制度化に向けて

- ICERは、費用・効果等の推計における前提条件により結果が大きく変動し、また、医薬品の価値を十分に反映しない。また、支払い意思額調査は質問方法や選定された回答者によって異なった結果になること等が想定され、意思決定の根拠としての妥当性には疑問がある。
- これらの懸念を踏まえ、費用対効果評価を導入する場合は、以下の点に留意した制度設計を行うべきである。
  - ICERの評価はあくまでも一つの要素として捉え、社会的、倫理的影響を含めて多様な要素を取り入れた総合的評価とすること
  - 社会的、倫理的影響に関する観点から考慮すべき要素は、現在提案されている要素に限定せず、幅広く柔軟に取り入れること（予後が短い患者に対して延命効果が認められる場合など）
  - 既存の薬価制度との整合性を考慮し、**価格調整については有用性系加算の範囲に限定すること**
- 試行対象品目については不確定な要素が多い中で費用対効果が評価されることから、**最終的な薬価への反映は有用性系加算の範囲に限定すべき。**



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

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

費用対効果評価に関する意見

2017年10月11日  
欧州製薬団体連合会

- 日本においては、医療技術評価の概念を包含する薬価基準制度が存在している。また、現行の仕組みによって薬剤費支出は十分に管理されている。\*
- 費用対効果評価を導入している諸外国では、日本のような精緻な薬価算定ルールが存在しないため、製薬企業が求める価格の妥当性判断に費用対効果評価の結果が用いられている。
- 日本において費用対効果評価を導入するのであれば、現行の薬価基準制度を踏まえた上で、補足的な位置づけとすべきである。
- 具体的には、薬価算定において一定率以上の加算が適用され、かつ、ピーク時売上高が一定額以上になると予測される品目を対象とし、価格調整の範囲は、加算の範囲に限定すべきであり、加算前の薬価を下回ってはならない。

※ IMSBase-JPM、EFPIA-QuintilesIMS予測

- ICERの値は多くの前提条件に基づいて算出されるため、ICERの値に基づく費用対効果の評価は絶対的なものではない。
- また、諸外国においては、ICERに加えて倫理的、社会的影響等を十分に考慮して評価が行われていると認識している。
- よって、総合的評価は、「倫理的・社会的考慮要素」も重視して行われるべきであり、「価格調整係数(仮称)」によって十分に反映されるべきである。

- 諸外国において、費用対効果評価が当初から確固たる制度として運用されてきた国は存在せず、制度改善の必要性や医療環境の変化を踏まえ柔軟に対応している状況である。
- 本格導入においては、試行において明らかになった課題等も十分に踏まえるとともに、関係者の意見を取り込んだ上で見直しを行うことが必要である。

# 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

平成29年10月11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)医療機器委員会



# 1. 試行にあたっての基本的な考え方

- ✓ **費用対効果評価の重要性については業界として十分理解をしている**
- ✓ **医療機器の特性等に応じて、以下のような点に十分配慮して頂きたい**
  1. 医療機器によって患者にもたらされるバリューは、医療のみならず介護等への影響を広く含めた評価が重要である。倫理・社会的要素の考案の際に、この点についても十分考慮していただきたい
  2. 比較臨床試験の少なさ、製品サイクルの短さ、医療従事者の習熟に時間がかかる、等の医療機器の特性等から、多くの製品で、信頼にたるQALYの推計が困難な場合が想定され、それを前提とした制度設計が必要である
  3. 加算を得た製品を試行的導入の対象としていることから、評価結果の償還価格への反映にあたっては、加算部分の調整のみにすべきと考える
  4. また、従来の材料価格制度との関係においては、費用対効果評価により加算部分を定量的に調整するものと位置づけられることから、価格調整にあっては価格引き上げも行うべきと考える

## 2. 費用対効果評価における不確実性について (1/2)

費用対効果評価では、その結果に関して不確実性は避けられない

- ✓ 「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」(以下、分析ガイドライン)では、「費用効果分析を行う上では、様々な分析の不確実性(uncertainty)がともなう」とした上で、以下のような整理を行っている

<b>a) モデルの不確実性</b>	
(a)-1 方法論上の不確実性	割引率や生産性損失の推計方法等
(a)-2 モデルの構造・仮定等の不確実性	健康状態や治療プロセスのモデル化法、モデルに組み込むパラメータの選択、観察期間を超えて長期的な予後を予測するための仮定等
<b>b) パラメーターの不確実性</b>	パラメーターの推定値が持つ不確実性(統計値と真のイベント発生率との差異の可能性等)

- ✓ この不確実性に対応するために感度分析が行われ、これまで中医協で示された海外の具体例でも、以下のように、QALYあたりのコストは大きな幅として示されていることから、それを踏まえた議論とすることが重要

両心室ペースメーカー (H25.6.26部会)	AUD12,257/QALYからAUD21,850/QALY
英国【分子標的薬A】(H25.7.31部会)	約£30,000/QALYから£40,000/QALY

- ✓ 特に医療機器では、費用対効果評価に十分な臨床データがないことが多く、この不確実性を感度分析にとどまらず、データの選択を含め、どのように扱うかが大きな問題である

## 2. 費用対効果評価における不確実性について (2/2)

中医協でも紹介された両心室ペースメーカー (CRT)の費用対効果評価は、豪州HTA機関(MSAC)の元分析(注)では、多くの感度分析がなされ、最低と最高をみると、AUD8,803からAUD111,633までと、10倍以上の開きがあった

- 公立病院・民間病院それぞれの立場で分析

	ベースライン	感度分析
公立病院	AUD12,257	AUD8,803 – 21,108
民間病院	AUD21,850	AUD15,749 – 28,237

(感度分析は、生存年の割引率、手術成功率、在院日数、製品コスト等)

- 分析期間を変動させた感度分析では、さらに大きく変動

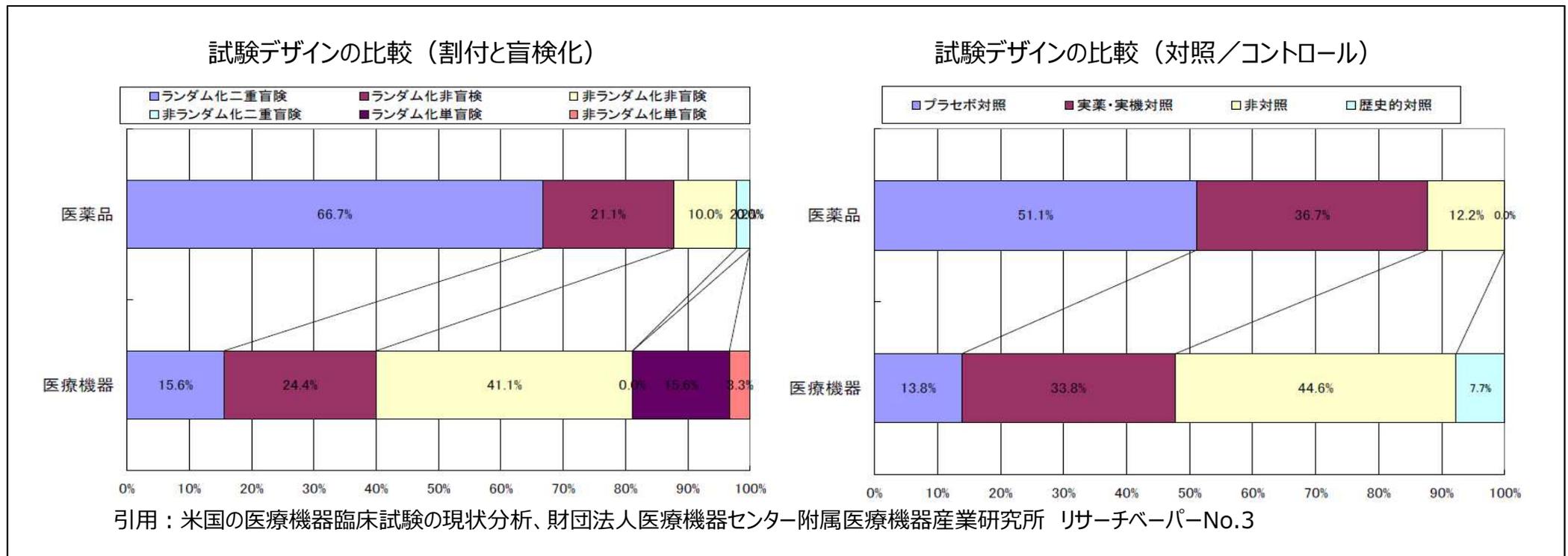
分析期間	29.4ヶ月	5年	10年	生涯
公立病院	68,588	25,362	16,350	12,257
民間病院	111,633	45,706	29,971	21,850

単位：AUD/QALY

注) (Assessment Report 1042)

### 3. 分析結果に大きな不確実性が含まれる場合の取扱いについて(1/2)

- ✓ 費用対効果評価の対象になった製品については、まずはシステマティックレビュー等により、収集可能なデータがどの程度あるかを確認することとなる
- ✓ しかし、医療機器では、QALY算出のベースとなる比較臨床試験が、製造販売承認時には必須ではなく、実際に行われているケースも少ない（下記の通り、米国ですら半数以下）



比較臨床試験が少ないのは、盲検試験の難しさ、症例を集める困難さ、倫理的問題等があるが、一方で、シングルアーム試験等で示した有用性でも、科学的に有用性を一定程度示すことができるという医療機器の特性があるからと考えられる

### 3. 分析結果に大きな不確実性が含まれる場合の取扱いについて(2/2)

- ✓ 豪州では治療系医療機器の医療技術評価（有効性、安全性、経済性）が1999年から実施されており、結果が公表されている。費用対効果評価を行ったものは54%、日本のようにQALYを用いて費用対効果評価（CUA）を実施したのは全体の21%（別紙①参照）

#### 費用対効果評価が困難であった理由

- ・有効性データが存在しない（特に追加的有效性データがない）
- ・豪州における費用データが存在しない
- ・有効性データがあっても、エビデンスレベルが低くバイアスが大きい（ランダム化比較試験でないこと等の理由による）など

#### QALYによる分析が困難であった理由

- ・十分なQOLデータが存在しなかった
- ・QOLの改善効果が示唆されているが、収集したデータからQOL値への換算が困難

- ✓ 本邦でも同様の事が想定され、キーとなるデータ不足のために大きな不確実性が含まれるとみられる場合等には、『分析困難』とし、償還価格への反映を行わないことが妥当であると考え

## 4. 分析ガイドライン等における課題等

- ✓ 現行の分析ガイドラインは薬剤の評価方法に則って記載されており、医療機器の特性や臨床での実情が必ずしも反映されていない

### 製品サイクルの短さ

- 試行的導入の対象製品のうち、改良品の上市等に伴い、既に販売が中止されているものがある
- 改良品については追加的試験等を実施しても、開発当初と同様の比較試験等が行われないケースが多い

### 医療者の技術の習熟度

- 医療機器を用いた手技の習熟度が上がることで、臨床的なアウトカムが向上することを前提としたデータの選択が必要

- ✓ 再分析において、企業による分析時と異なるソースを用いることで、全く違う結果が導き出されてしまうことがある（例：再分析時に、企業が用いることのできない別のデータベースを用いることで、企業にとって想定し得ない結果が出る等）
- ✓ 現行の保険医療材料等専門組織での材料価格算定においても、類似機能区分の選定のみならず、当該新医療機器を用いた技術が置かれた状況等について、学会からの見解を求められ、関連分野の臨床の専門家に専門組織に出席して議論に参加頂いている。医療機器の置かれた状況を理解するためには、こういった取組は必須である

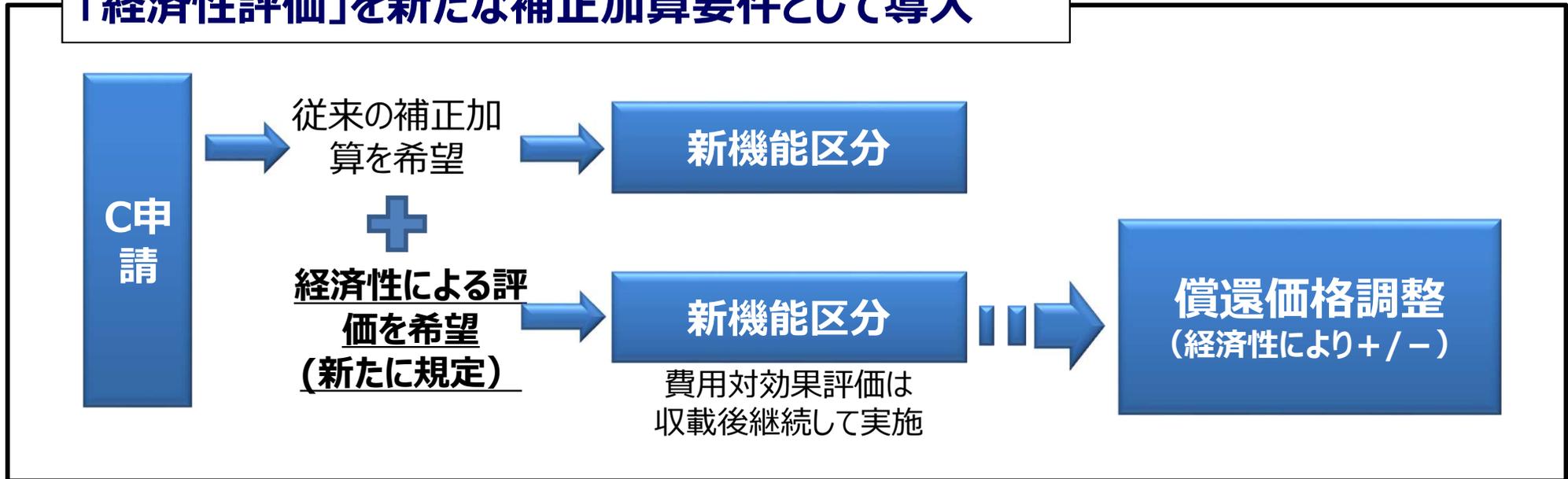
上記の例からも、制度化に向けては、医療機器の特性や臨床での実情を鑑みた工夫が必要と思われる（別紙②参照）

## 5. 今後の本格制度化に向けての提案（1/2）

### 提案 1

医療機器の有用性を評価する指標として経済性を位置づけ、企業が本制度に自発的に取組めるようにする

#### 「経済性評価」を新たな補正加算要件として導入



なお、市場導入後、実勢価による償還価の調整方法として、既存の外国価格再算定制度に加えて、本制度が導入されることになるが、再算定については、本制度と**外国価格再算定制度は棲み分けられるのではないかと**考えている。

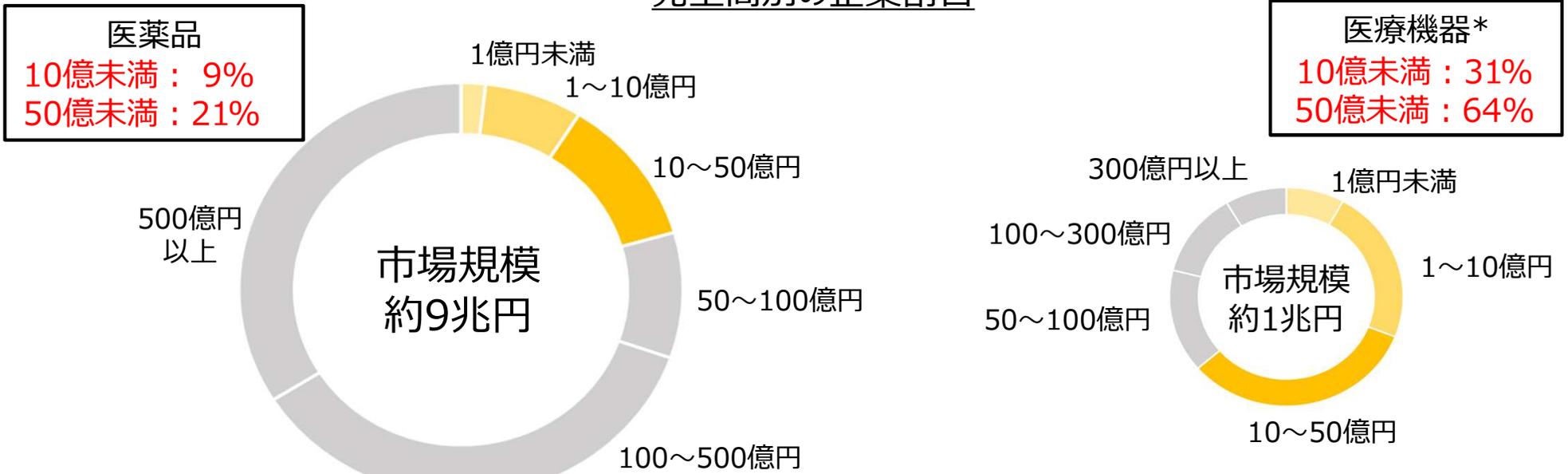
# 5. 今後の本格制度化に向けての提案 (2/2)

## 提案 2

医療機器に対する費用対効果評価の望ましい導入方法（選定基準、分析ガイドライン、等）について、引き続き検討を行う

医療機器の費用対効果評価に要する企業の負担は、相対的に医薬品に比べて大きい  
が、一方で、医薬品に比べて医療機器の企業規模が小さいことにも配慮頂きたい。当面  
制度化にあたって選定基準を設ける際には、医療財源への影響を踏まえて検討頂きたい

売上高別の企業割合



(2015年医薬品・医療機器産業実態調査より作図、調査数112社)

(MTJAPAN調査より作図、調査数223社)

\*(特定保険医療材料の売上高)

## 6. 高額な医療機器を用いる医療技術について

- 高額な医療機器を用いる医療技術の議論においては、具体例の検討を含めて、業界としても協力を実施してきたところ
- 今後、本議論においては、今回の意見陳述が試行的導入に係るものであることを踏まえ、業界の意見陳述の機会を別途設けていただきたい

# 豪州のHTA機関MSAC(Medical Services Advisory Committee) の治療系医療機器の評価結果

1999-2017で133件、結果公表済み101件

	分析手法	件数
費用対効果評価 実施 55件(54%)	QALYを用いた分析 (CUA : Cost-Utility Analysis)	<b>22</b>
	QALY以外の指標を用いた分析 (CEA : Cost-Effectiveness Analysis)	14
	費用最小化分析 (CMA : Cost Minimization Analysis)	12
	CUA・CEA併用	<b>6</b>
	CUA・CMA併用	<b>1</b>
費用対効果評価 非実施 46件 (46%)	費用比較・費用分析のみ	19
	評価なし	26
	PBAC*が実施 (*Pharmaceutical Benefits Advisory Committee)	1

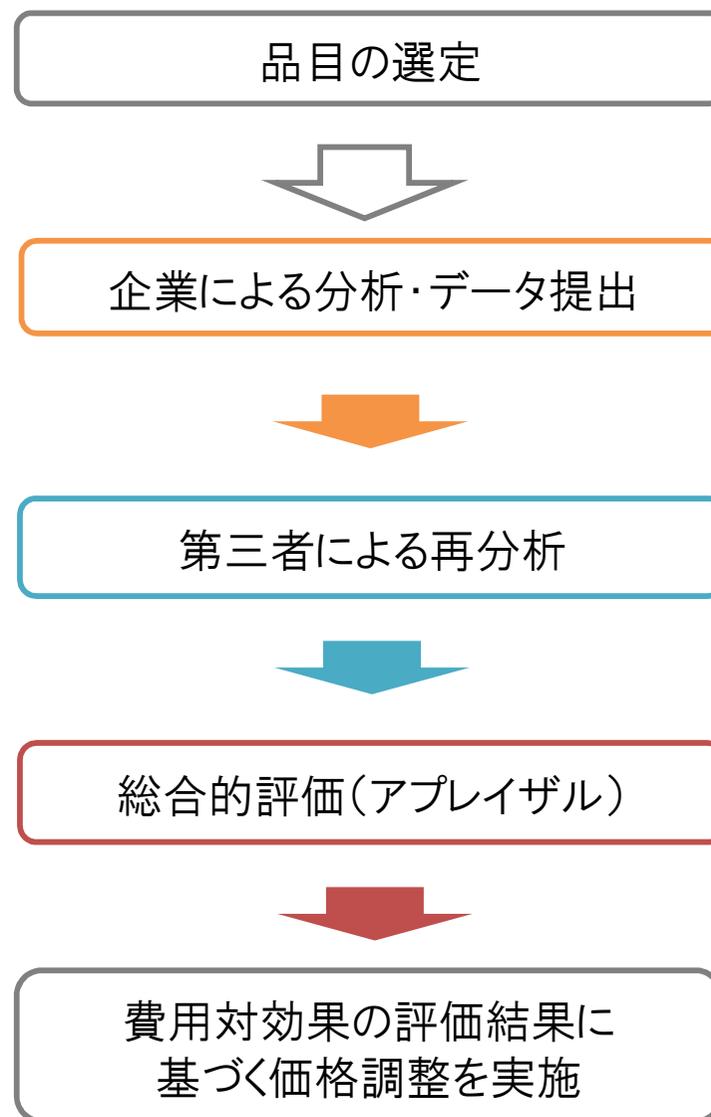
(東京大学大学院薬学系研究科・五十嵐特任准教授の講演資料を許諾を受けて改変・転載)

## 費用対効果評価分析ガイドラインに関する具体的提案

医療機器の特性を踏まえた評価とするために、以下について検討をお願いしたい

- 1) ガイドラインに「医療機器についてはランダム化比較試験に限らず、最近の改良製品、技術に基づいた臨床成績を確認できる条件を用いてシステマティックレビューを実施する」旨を追記する
- 2) ガイドラインの「間接比較を可能とする前提条件」として「疾患、重症度、患者背景等」に加えて、「手技、医療従事者の習熟度等」を追記する
- 3) 医療機器の有効性・安全性・QOL値・費用等のデータ選定については、ガイドラインに「医療機器については当該領域の現在の診療行為を理解する臨床専門家が検証を行う」ことを追記するとともに、関係学会の関与について求めているかどうか

## 費用対効果評価の試行的導入の一連の流れ



## 費用対効果評価の試行的導入に係る主な経緯(平成29年10月11日現在)

	これまでの取組及び今後の予定
1 対象品目の選定	<ul style="list-style-type: none"> <li>・13品目を選定(～H28.7)</li> </ul>
2. 企業による分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>・企業から分析結果を提出(～H29.5)</li> </ul>
3 再分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>・再分析を実施(～H29.10)</li> </ul>
4. 総合的評価	<p>費用対効果評価専門組織</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・意見陳述を希望する企業からの意見を聴取(実施中)</li> <li>・総合的評価(アプレイザル)を実施(予定) (不服の場合、企業からの意見を聴取予定)</li> </ul>
5 評価結果に基づく 価格調整	<ul style="list-style-type: none"> <li>・評価結果に基づく価格調整を実施(予定)</li> </ul>

# 試行的導入における対象品目(13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)		バーサイス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 (プリストル・マイヤーズ)		Brio Dual 8ニューロスティミュレータ (セント・ジュード・メディカル)	
	スンベプラ (プリストル・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

- ① 除外要件  
イ 指定難病、血友病及びHIV感染症、ロ 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、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が最高【医薬品】(保険償還価格が最高【医療機器】)**  
 ロ 平成24年度から平成27年度、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が最高【医薬品】(保険償還価格が最高【医療機器】)**
- ※ これによって選定された品目の薬理作用類似薬(同一機能区分に該当する医療機器)も対象

# 費用対効果評価に関する閣議決定等

## 経済財政運営と改革の基本方針2015（2015年6月30日閣議決定）（抄）

医療の高度化への対応として、医薬品や医療機器等の保険適用に際して費用対効果を考慮することについて、2016年度診療報酬改定において試行的に導入した上で、速やかに本格的な導入をすることを旨とする。

## 薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（平成28年12月20日）（抄）

革新的新薬創出を促進するため、新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度をゼロベースで抜本的に見直すこととし、これとあわせて、費用対効果の高い薬には薬価を引き上げることを含め費用対効果評価を本格的に導入すること等により、真に有効な医薬品を適切に見極めてイノベーションを評価し、研究開発投資の促進を図る。

なお、費用対効果評価を本格的に導入するため、専門的知見を踏まえるとともに、第三者的視点に立った組織・体制をはじめとするその実施のあり方を検討し、来年中に結論を得る。

## 経済財政運営と改革の基本方針2017（2017年6月9日閣議決定）（抄）

「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（平成28年12月20日）に基づき、効能追加等に伴う市場拡大への対応、毎年薬価調査・薬価改定、新薬創出・適応外薬解消等促進加算制度のゼロベースでの抜本的見直し、費用対効果評価の本格導入などの薬価制度の抜本改革等に取り組み、「国民皆保険の持続性」と「イノベーションの推進」を両立し、国民が恩恵を受ける「国民負担の軽減」と「医療の質の向上」を実現する。（略）

エビデンスに基づく費用対効果評価を反映した薬価体系を構築する。このため、専門的知見を踏まえるとともに、第三者的視点に立った透明性の高い組織・体制をはじめとするその実施の在り方を検討し、本年中に結論を得る。