

# 費用対効果評価専門部会委員名簿

平成26年8月27日現在

代表区分	氏名	現役職名
1. 健康保険、船員保険及び国民健康保険の保険者並びに被保険者、事業主及び船舶所有者を代表する委員	矢内 邦夫 白川 修二 花井 十伍 石山 恵司 田中 伸一 榊原 純夫	全国健康保険協会東京支部長 健康保険組合連合会副会長・専務理事 日本労働組合総連合会「患者本位の医療を確立する連絡会」委員 日本経済団体連合会社会保障委員会医療改革部会部会長代理 全日本海員組合副組合長 愛知県半田市長
2. 医師、歯科医師及び薬剤師を代表する委員	鈴木 邦彦 松本 純一 万代 恭嗣 長瀬 輝誼 堀 憲郎 安部 好弘	日本医師会常任理事 日本医師会常任理事 日本病院会常任理事 日本精神科病院協会副会長 日本歯科医師会常務理事 日本薬剤師会常務理事
3. 公益を代表する委員	○ 印 南 一路 ◎ 田 辺 国昭 西 村 万里子 森 田 朗	慶應義塾大学総合政策学部教授 東京大学大学院法学政治学研究科教授 明治学院大学法学部教授 国立社会保障・人口問題研究所所長
4. 専門委員	加茂谷 佳明 土屋 裕 昌子 久仁子 田村 誠	塩野義製薬株式会社常務執行役員 エーザイ株式会社代表執行役 テルモ株式会社取締役上席執行役員 アボットジャパン株式会社ガバメントアフェアーズハイスプレジデント

◎印：部会長 ○印：部会長代理

## <参考人>

- ・ 福田 敬 (国立保健医療科学院上席主任研究官)
- ・ 池田 俊也 (国際医療福祉大学教授)
- ・ 田倉 智之 (大阪大学教授)

# 諸外国の費用対効果評価の 現況について

福田参考人提出資料

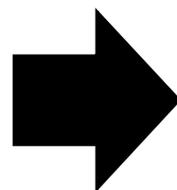
# 1. イギリス

# イギリスNICEの役割

- National Institute for Health and Care Excellence (NICE, 国立保健医療研究所)
- NICEは、保健大臣によって決定された(NICEも助言を行う)一部の医療技術について、医療技術評価(HTA)の評価対象としている。その際に以下の観点に着目して技術が検討される。
  - 疾病の状況 (影響を受ける集団、罹患率、死亡率)
  - 経済的影響 (NHSや公共セクターへの費用の影響)
  - 政策的な重要性 (対象が政府にとって優先的な分野であるか)
  - 技術の提供についてばらつき(地域差等)があるか
  - ガイドラインを作成することの緊急性
- ガイダンスでは対象となった医療技術について
  - (1)使用を推奨する(recommended)
  - (2)使用を推奨しない(not recommended)
  - (3)使用パターンや条件を推奨する(optimized)という3パターンのいずれかを勧告する。
- NICEにより使用を推奨しないという勧告が出されると、各地域や病院において予算が確保されないため使用が難しくなる。
- これらの意思決定を行う際には、臨床的有効性・安全性に加え経済性(費用対効果)が加味される。

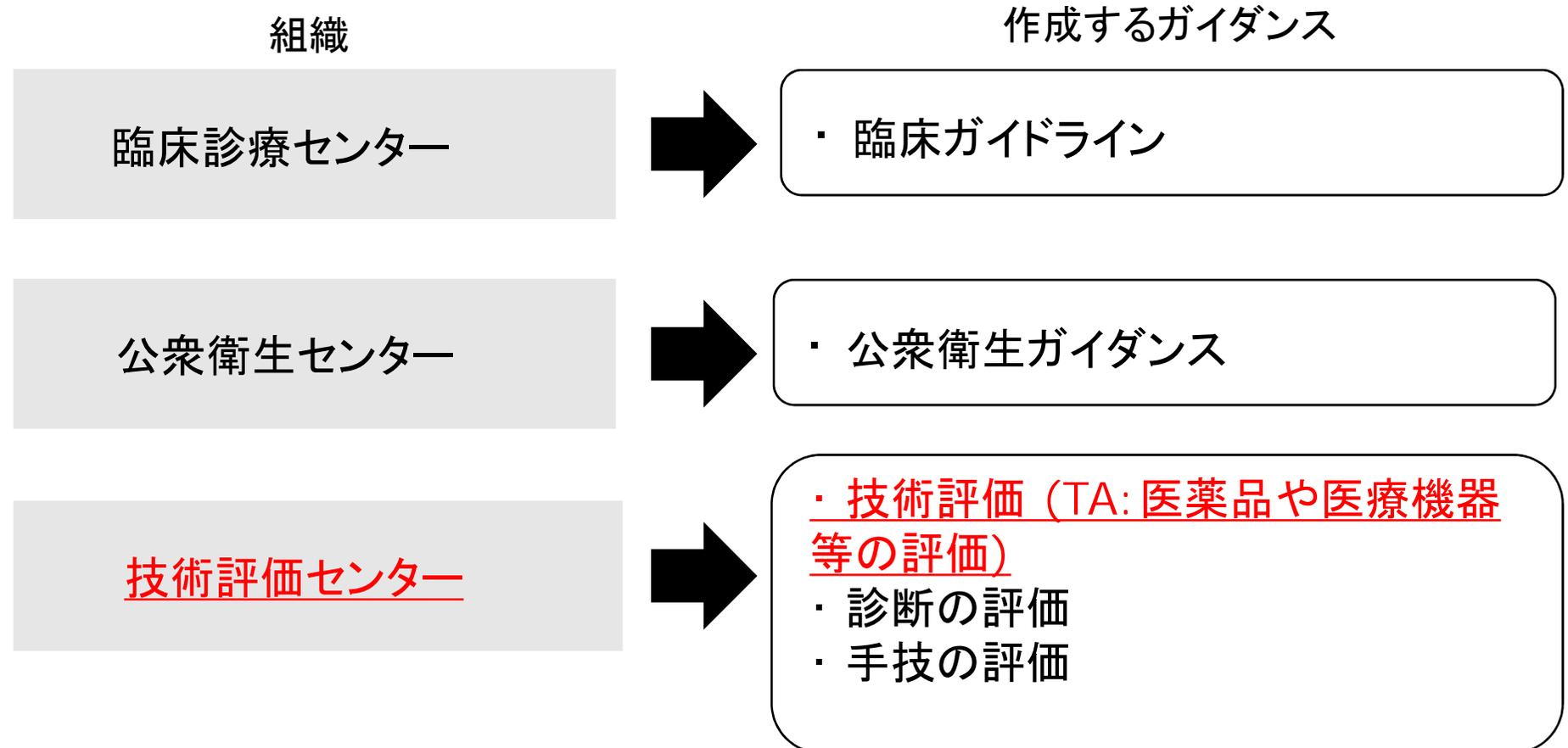
# NICEの法的位置づけ

- 1999年に National Institute for Clinical Excellence(NICE)として設立。
  - 2005年: National Institute for Health and Clinical Excellence(NICE)に改組
  - 2013年: National Institute for Health and Care Excellence(NICE)に改組
- 以前は保健省令に基づいていたが、2012年にはHealth and Social Care Act 2012上に書き込まれたことで法的位置づけが明確化され、独立した公的研究機関(Non Departmental Public Body (NDPB))となる。



# NICEの組織と構造

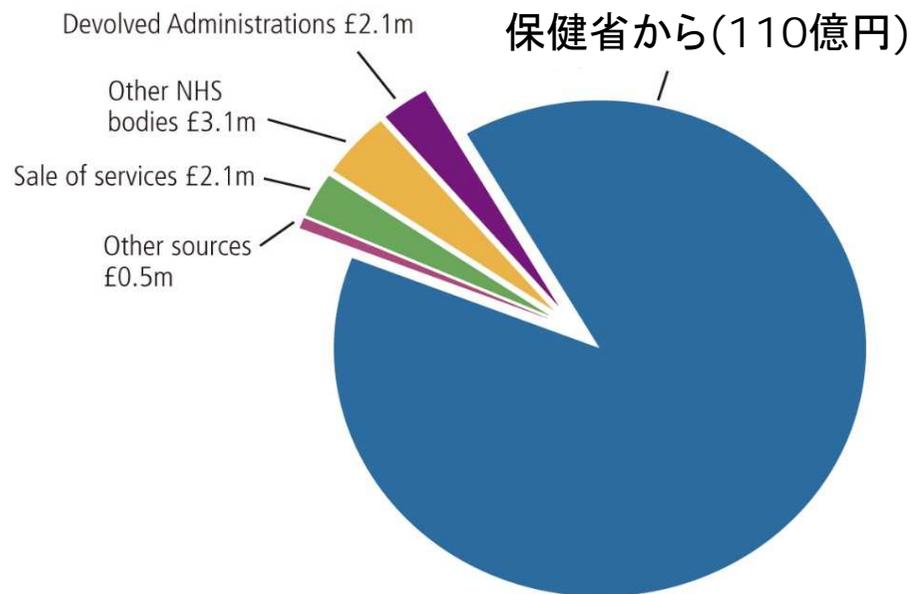
NICEは大きく3つのセンターから構成されており、医療技術評価(費用対効果評価)はその役割の一部である。



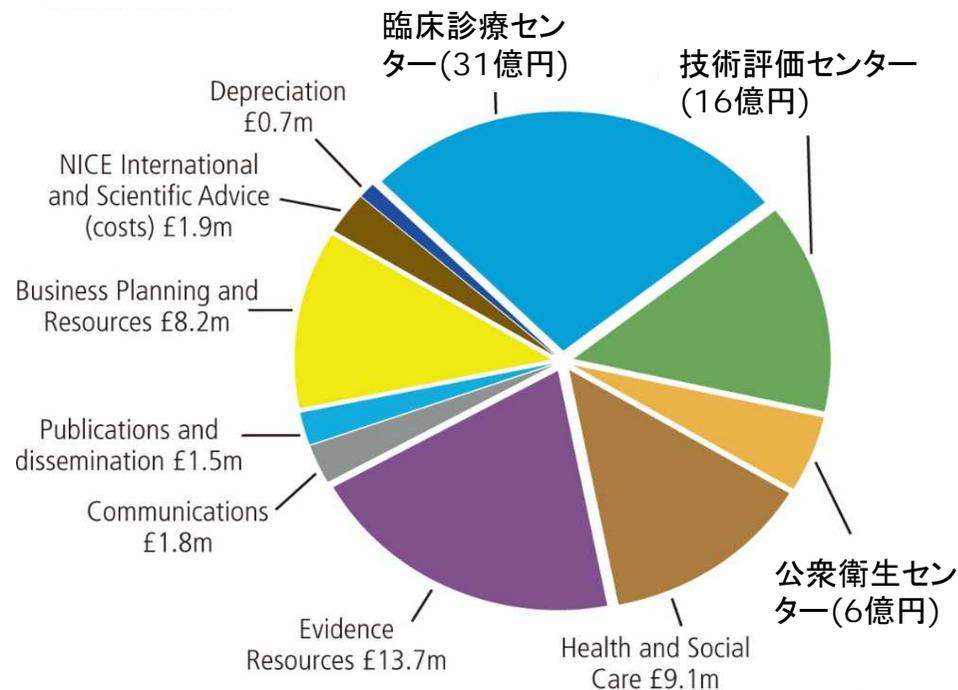
# NICEの予算規模

(1ポンド=170円)

収入 約7270万ポンド(=124億円) (m)



支出 約6850万ポンド(=116億円)



技術評価(TA)の作成に使用されている予算は、技術評価センターの予算の一部であり、NICEの予算全てを使用して実施されているわけではない。

# 費用対効果評価における分析の実施主体

- NICEの技術評価(費用対効果評価)のガイダンスには、STA(Single Technology Appraisal)とMTA(Multi Technology Appraisal)が存在する。
- STAでは、企業の提出した分析をもとにアカデミックグループがレビューする。評価に要する期間はSTAの方が短く、市販前から実施されることも多い。
- 現在はSTAがガイダンスのほとんどを占めている。
- MTA、STAいずれにおいても評価結果は全て公開される。提出されたデータ等も一部の機密情報を除き、公開が原則である。

	対象技術	分析者	レビュー	分析期間	評価結果
MTA	複数	アカデミックグループ(※)	-	長	原則として公開
STA	単一技術・適応	企業	アカデミックグループ	短	

(※) 近年は企業が分析を提出することも多い。

# アカデミックグループ

- 大学やコンサルティング企業等がNICEと契約を行い、ガイドンスのレビュー等を担当している。
- 現在のところ下記の9カ所である。
  - BMJ(British Medical Journal)エビデンスセンター
  - Kleijnenシステマティックレビュー株式会社
  - アバディーン大学
  - リバプール大学
  - ヨーク大学
  - エクセター大学/プリマス大学
  - シェフィールド大学
  - サウスサンプトン大学
  - ウォーリック大学

# 費用対効果評価の価格への活用

- 医療技術の使用を「推奨しない」という判断を下すと、医療技術のアクセスに関する問題を顕在化してしまうという課題があった。
- そのため、費用対効果評価の結果に応じて、実質的に価格を調整する(費用対効果の悪い医療技術については、価格を下げる)ことにより、「費用対効果」と「患者のアクセス」を両立する手法がとられてきた。
- そこで、2009年の制度改正から正式に以下のような仕組みが導入された。
  - 患者アクセススキーム (patient access scheme :PAS): 費用対効果評価の観点から、ガイドンスで使用が推奨されないおそれがある際に、患者のアクセスを確保するための措置
  - 弾力価格制 (flexible pricing): 市販後のエビデンスや適応拡大により最大30%までの薬価上昇を認める。(ただし、現在まで適応例はなし)

# 患者アクセススキーム(PAS)の例

- 単純値引 (Simple Discount)

リスト価格はそのままだが、実際には割り引いた価格でメーカーが供給する。現在適応される多くのPASがこの形態になっている。

- その他の方式 (Complex schemes)

1. 払い戻し (Rebate):

(例) TA176 セツキシマブ: 16%払い戻し

2. 無償提供 (Stock supplied at zero costs):

(例) TA220 ゴリムマブ: 100mgを50mgと同等の価格で提供

3. 投与量制限 (Dose Capping)

(例) TA176 レナリドミド: 26サイクル以上の費用はメーカー負担

4. アウトカムに基づく方法 (Outcome-based schemes)

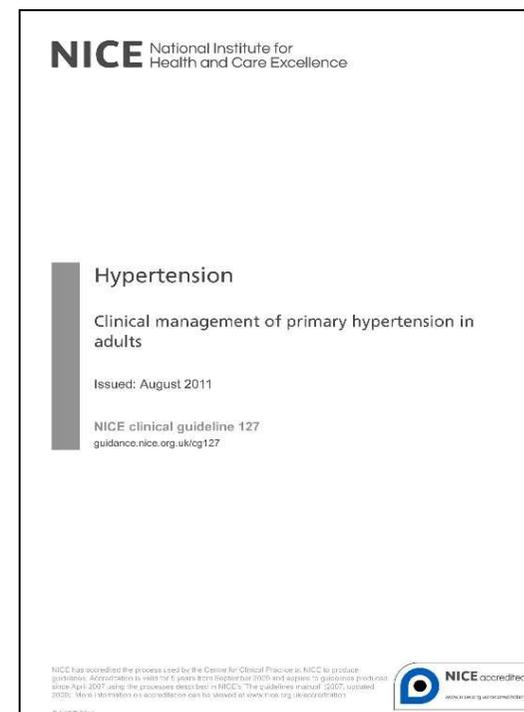
(例) TA129 ボルテゾミブ: 完全寛解ないし部分寛解に至らない場合はその費用をNHSに払い戻す

# ガイドラインにおける使用パターンや条件への活用

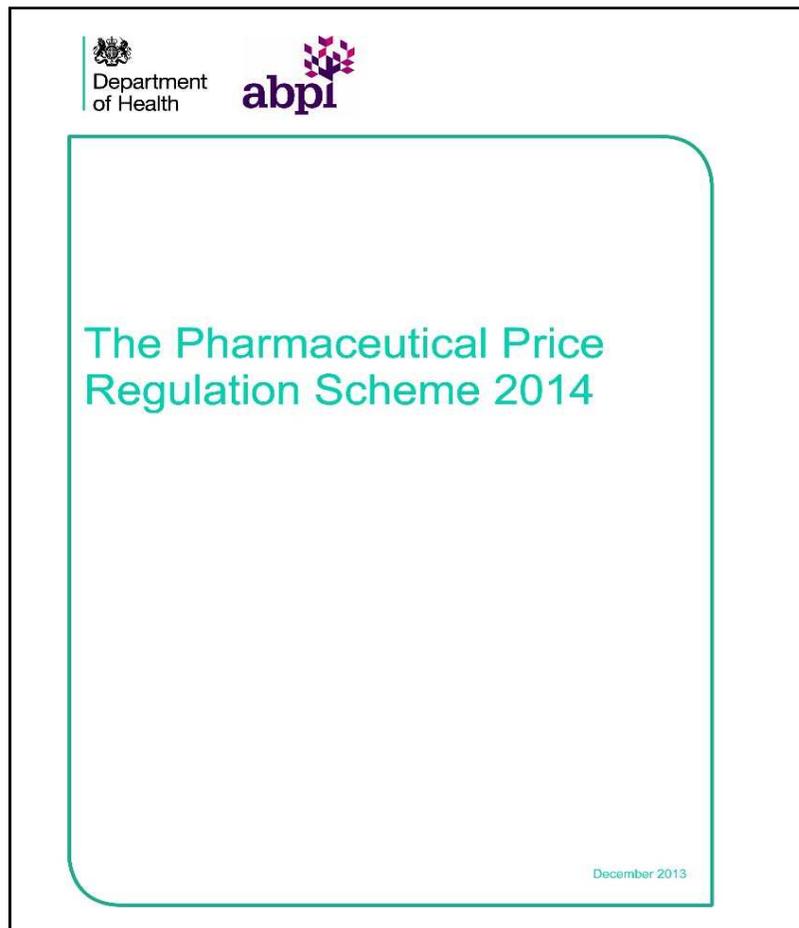
- NICEでは単なる使用・非推奨の決定だけでなく、有効性・安全性に費用対効果の情報も加味して、使用パターンや条件を定めることも多い。
- (例) 高血圧に関する臨床ガイドラインにおける記述

- Offer people aged under 55 years step 1 antihypertensive treatment with an angiotensin-converting enzyme (ACE) inhibitor or a low-cost angiotensin-II receptor blocker (ARB). If an ACE inhibitor is prescribed and is not tolerated (for example, because of cough), offer a low-cost ARB.
- Offer step 1 antihypertensive treatment with a calcium-channel blocker (CCB) to people aged over 55 years and to black people of African or Caribbean family origin of any age. (CG127)

- 55歳以下の患者に対しては、ACE阻害薬あるいは安価なARBが第1選択である。ACE阻害薬の認容性がなければ、安価なARBを使用する。
- 55歳以上の患者に対してはカルシウム拮抗薬が第1選択である。



# 新たな取り組み: 価値に基づく価格設定 (Value based pricing: VBP)



## 【VBPの基本的な考え方】

- 2014年からPPRS(自由薬価+利益率規制)と呼ばれる現行の薬価制度を廃止してValue-based pricing(価値に基づく価格)を導入
- 利益率規制ではなく、費用対効果のよい限りで自由価格=すべての医薬品の価格を費用対効果のよい水準に設定するという目標
- 2010年より政権を担っている連立政権の政権公約であった。



2014年以降もPPRSは廃止できず、現行の仕組み(PPRSやPAS)を継続することになった。

## 2. フランス

# フランスHASの役割

- HAS(Haute Autorité de Santé)は、公的保険での医薬品の給付価格について、評価を実施した上で5段階での推奨を行う(ASMR)。
- 臨床的な側面に加え、疾患の特性や公衆衛生上の重要性なども考慮した上で推奨する。この際、一部の新薬については費用対効果のデータの提出を企業に求める(2013年10月より)。

ASMR	レベル	償還価格
I	顕著な改善	欧州4カ国 (英・独・伊・西)
II	高度な改善	平均価格
III	中等度の改善	
IV	軽度の改善	既存と同等程度
V	改善なし	既存より安いあるいは非償還

科学的な追加的有用性の評価  
= HAS が実施

価格設定や交渉  
= CEPS(経済委員会)が実施

# HASの組織と構造

HASの活動は大きく3つに分かれている。費用対効果評価は「評価及び推奨」の一部である。

---

評価および推奨  
(Evaluation et  
Recommandation)

医療技術の有用性評価  
医療技術の費用対効果評価  
診療ガイドラインの作成

---

認証・評価基準の作成・  
医療情報  
(Certification, indicateurs et  
information médicale)

医療機関の認証  
医療機関の評価基準の作成  
医療情報の活用

---

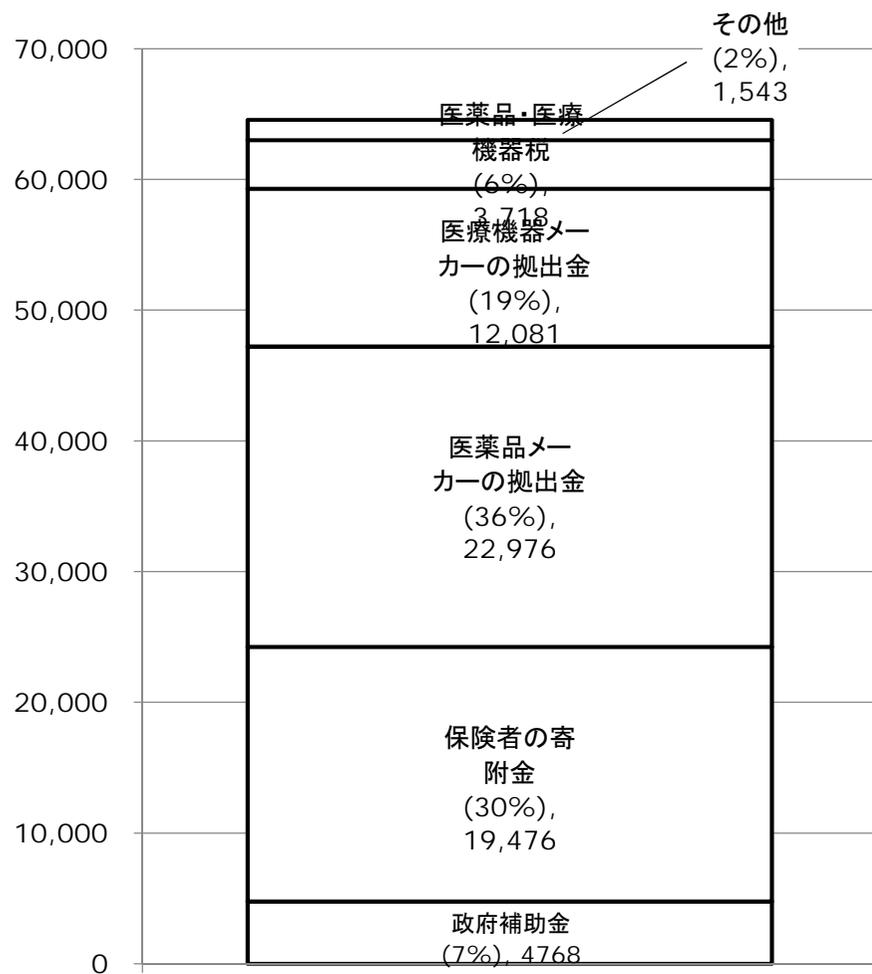
ヘルスケアの質と安全性の向上  
(Outils, guides et méthodes pour  
la qualité et la sécurité des  
soins)

クリニカルパスの作成  
患者の安全性の向上

---

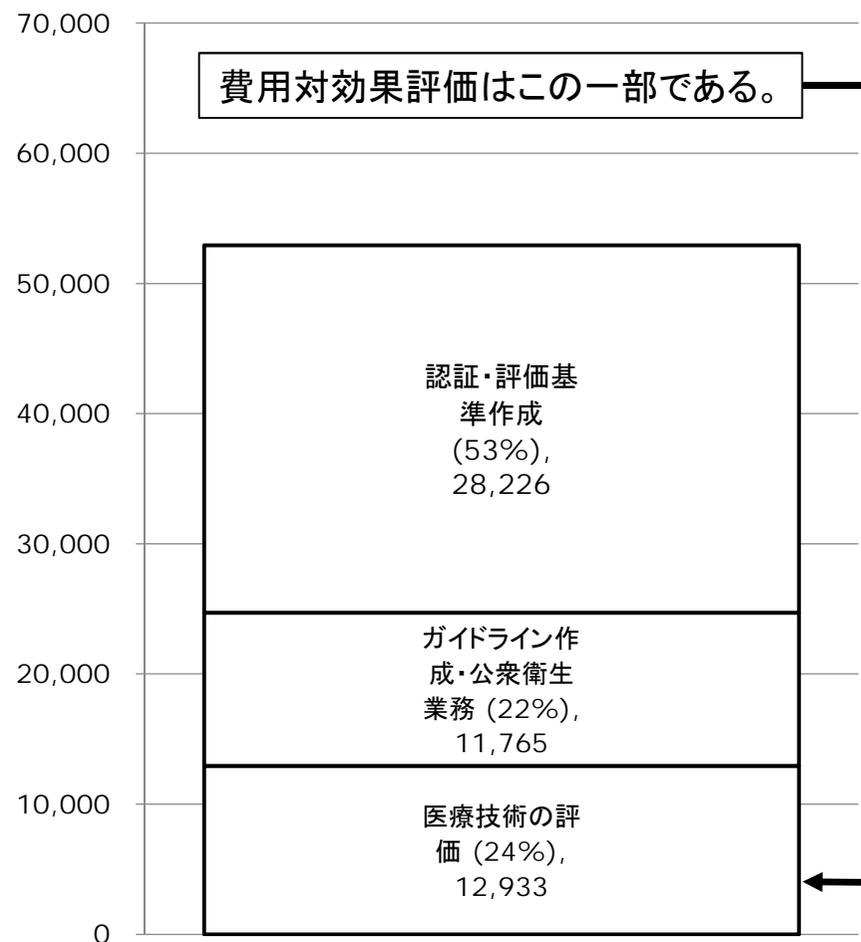
# HASの予算規模

(収入: 6460万ユーロ, 84億円)



収入 (単位: 千ユーロ)

(支出: 5,290万ユーロ, 69億円)



支出 (単位: 千ユーロ)

# 新たな動き：費用対効果評価の導入

- フランスでは、5年ごとにASMRを再評価している。
- HASでは、初回提出時に行われる評価をSingle Technology Appraisal (STA)、上市5年後までに行われる再評価をMultiple Technology Appraisal (MTA)と呼んでいる。
- 2008年から、MTAで費用対効果評価のデータ提出が可能となる。
- 2013年10月から、STAで以下の条件満たす場合に、企業による費用対効果のデータ提出が義務化された。
  - ①ASMRでI/II/IIIの評価を希望する医薬品
  - ②医療予算へのインパクトが大きい(年間売り上げ2,000万ユーロ以上)医薬品
- 費用対効果評価の結果は、CEPS(経済委員会)での価格交渉に活用される。

# 費用対効果評価の実施主体

- STAでは、企業が分析したデータをHASの経済評価・公衆衛生委員会 (CEESP)に提出する。
- CEESPは、90日以内に企業が提出した分析の再分析等を実施する。
- CEESPの委員は30人程度、医療専門職や消費者代表など含む。
- 再分析等は大学などの外部専門家へも委託可能である。

# 費用対効果のデータ提出が求められた医薬品（2014年8月現在）

製品名	適応	製品名	適応
ベドリズマブ	潰瘍性大腸炎・クローン病	ドルテグラビル	HIV感染症
ボトックス	ボツリヌス療法	マチセンタン	肺高血圧症
ミトラクリップ	僧帽弁閉鎖不全症	ソフォスブビル	C型肝炎
シメプレビル	C型肝炎	ゾスターウイルス	帯状疱疹ワクチン
レナリドミド	多発性骨髄腫	ラジウム223	前立腺がん
リオシグアト	肺高血圧症	トラスツズマブ エムタンシン	乳がん
ロミプロスチム	特発性血小板減少性紫斑病	デフィブロチド	肝中心静脈閉塞症
ロタリックス	ロタウイルス感染症ワクチン	アレムツズマブ	多発性硬化症
ロタテック	ロタウイルス感染症ワクチン	パニツムマブ	大腸がん
フマル酸ジメチル	多発性硬化症		

# 3. ドイツ

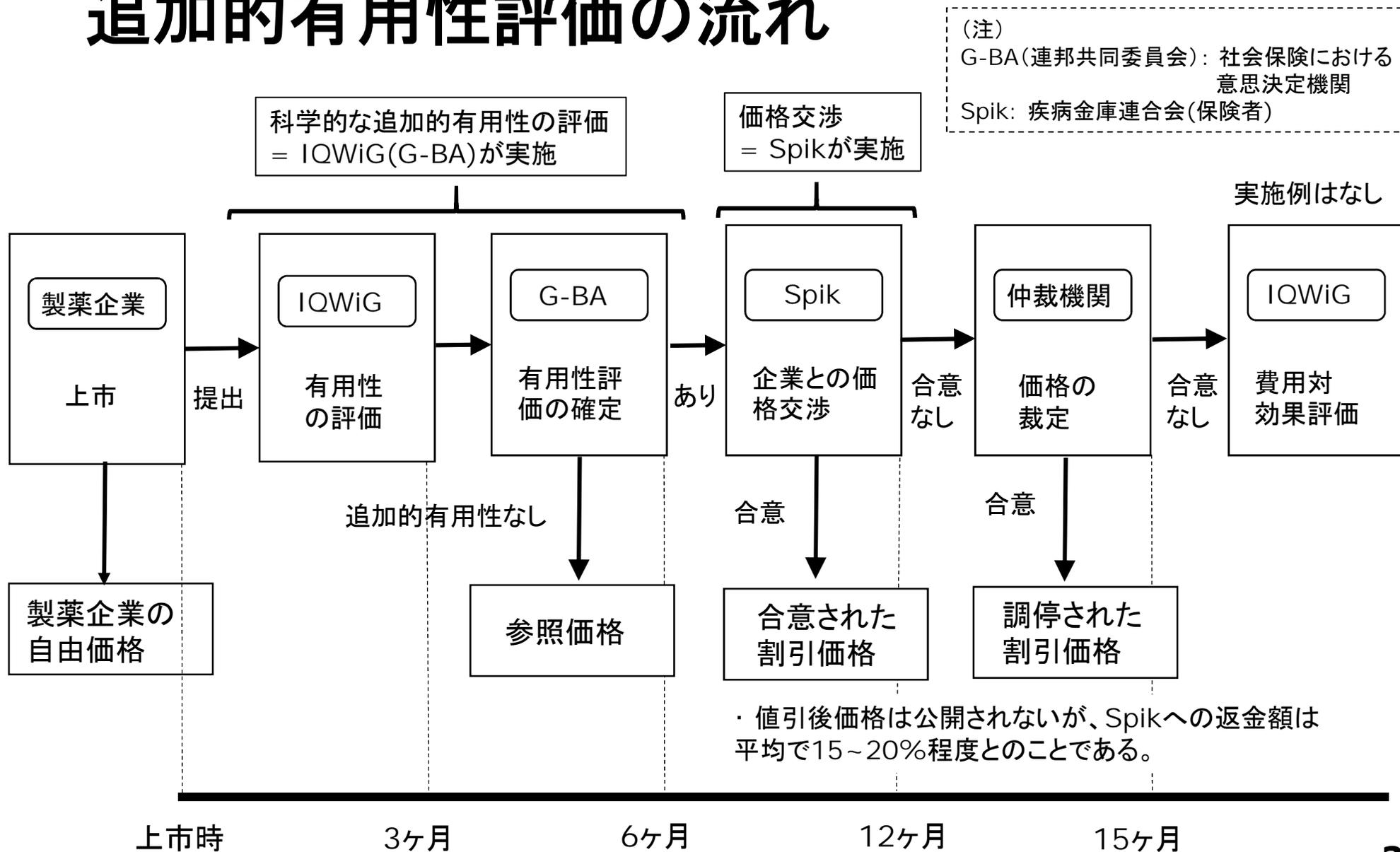
# ドイツIQWiGの役割

- 2004年にIQWiG(Institute for Quality and Efficiency in Health Care)が設立された。
- 医薬品、その他の医療技術、診断、臨床ガイドラインや疾病管理プログラム等の評価を行っている。
- 2013年の予算は1800万ユーロ(=25億円)であり、収入は患者負担の一部による。
- IQWiGではG-BA(連邦共同委員会)の指示のもとでAMNOG(後述)における早期有用性評価を実施している(データは企業が提出)。

# 医薬品市場再編法 (AMNOG) に基づく評価

- ドイツの新規医薬品は自由価格であるが、参照価格グループが設定されているものについては、償還価格に上限がある。
- 参照価格グループに該当しない新薬については、市販後、約1年以内にIQWiGが追加的有用性を評価 (医薬品市場再編法 (AMNOG) に基づき2011年より運用開始)。
- 追加的有用性ありの場合、企業と疾病金庫中央連合会 (Spik) との価格交渉を実施。値引き価格は非公開で、リスト価格に反映されないが、売り上げに応じてSpikに返金される。
- 価格交渉等が成立しなかった場合、費用対効果の評価を実施することとなっているが、実施例はない。

# 追加的有用性評価の流れ



# 有用性評価の結果(2013年)

- 既存の医療技術等(≠治験等における比較対照薬)と比較した際の追加的な有用性を示すデータを企業が提出して、IQWiGがデータの検討を行う。
- 費用対効果評価は含まない。

追加的有用性 なし	17
追加的有用性 あり	
大 (Major)	5
中 (Considerable)	5
小 (Minor)	3
定量化困難	0
有用性あり 計	13

# 具体的な評価基準

	全死亡	重篤な症状や有害事象	健康関連QOL	重大でない症状 あるいは有害事象
大 (Major)	<u>生存時間の 大きな延長</u> ・リスク比=0.50 ・信頼区間の上限 =0.85	<u>長期間あるいは 広範囲な回避</u> ・リスク比=0.17 ・信頼区間の上限=0.75 ・リスクの絶対値5%以上	<u>大きな改善</u> ・リスク比=0.17 ・信頼区間の上限=0.75 ・リスクの絶対値5%以上	<u>該当しない</u>
中 (Considerable)	<u>生存時間の 中程度の延長</u> ・リスク比=0.83 ・信頼区間の上限 =0.95	<u>緩和あるいは 意味のある回避</u> ・リスク比=0.67 ・信頼区間の上限=0.90	<u>重要な改善</u> ・リスク比=0.67 ・信頼区間の上限=0.90	<u>重要な回避</u> ・リスク比=0.33 ・信頼区間の上限 =0.80
小 (Minor)	<u>生存時間の延長</u> ・信頼区間の上限 =1.0	<u>何らかの減少</u> ・信頼区間の上限=1.0	<u>意味のある改善</u> ・信頼区間の上限=1.0	<u>意味のある回避</u> ・リスク比=0.67 ・信頼区間の上限 =0.90

## 具体例の検討について（現在の状況）

### 1. 具体例の検討における進め方（確認）

- 5月28日の費用対効果評価専門部会で以下の事項について議論され、中医協総会において了承されたところ。
  - ① 具体例の選定基準と対象品目
  - ② 具体例のデータ・分析の提出の実施について
  - ③ 具体例を用いた分析等の体制
  - ④ 具体例の検討に関する今後のスケジュール
  
- 上記了承事項を踏まえて進めている、現在の検討状況について報告する。

### 2. 具体例を用いた分析体制

- 再分析等の検証に際しては、参考人等が含まれる研究班等を作り、作業の体制を整えることとしていることから、以下の研究班を構成。
  - 研究班名称： 厚生労働科学研究費補助金（厚生労働科学特別研究事業）  
「中央社会保険医療協議会における医薬品・医療機器の費用対効果評価再分析に関する研究」
  - 研究代表者： 国立保健医療科学院 統括研究官 福田敬
  - 研究分担者： 国際医療福祉大学 教授 池田俊也  
大阪大学 教授 田倉智之
  
- 利益相反については、他の会議における取扱いも踏まえて、以下のとおり整理している。

- ① 参考人及び研究協力者を対象とすること
- ② 「寄付金・契約金等」の定義、対象となる者、対象期間、金額ごとの対応については、先進医療会議等、保険医療材料専門組織、薬価算定組織と同様の取扱いとすること
- ③ 当該医薬品・医療機器の製造販売業者だけでなく、当該製造販売業者からの申告に基づく競合品目についても利益相反を確認すること
- ④ 検討対象の品目が変わる場合は、改めて利益相反を確認し、その結果に基づいて担当者を選定すること
- ⑤ 再分析等の検証や、結果の取りまとめなど、節目ごとに利益相反を確認すること

### 3. 具体例を用いた分析の実施に係る現在の状況と今後のスケジュール

○ 具体例を用いた分析の実施状況は以下のとおり

5月28日 中医協にて進め方を了承

6月 企業説明会を実施

7月～8月 企業と担当参考人が接触し、相談を開始

- ・ 8月上旬までに全企業との接触が終了
- ・ 企業が作成した分析の概要に基づいて、今後の方向性や技術的課題などを議論
- ・ しかし、一部の企業に対しては、懸念事項（※）の解消などに努めている段階であり、まだ、実質的な分析の概要提出に至っていない

現在 《企業》 ・ 懸念事項（※）に関する対応を要求  
・ （一部の企業が）実際の分析作業に着手  
《研究班》 ・ 担当参考人による相談の応需  
・ 再分析に備えた情報の収集等

（※）企業の懸念事項は以下のとおり

- ① 研究班による再分析の場へ参加したい
- ② 参考人等の機密保持、及び結果の取扱い（公開の方法等）について確認したい

○ 今後の対応について

上記の懸念事項への対応は以下のとおりとしてはどうか。

①研究班による再分析の場へ参加したい

- ・ 再分析は、企業の提出した分析の妥当性や限界を検証するために行われるものであることから、当事者性を排除し第三者的な視点から行うことが必要。
- ・ また、結果の解釈の客観性が損なわれたり、参考人等による適正な分析が阻害されるようなことがないような配慮が必要。
- ・ 上記の内容が担保される範囲において、研究班の再分析結果について、あらかじめ企業に開示してもよいものとする。

②参考人等の機密保持、及び結果の取扱い（公開の方法等）について確認したい

- ・ 参考人等と企業で、機密保持について契約を結ぶことは問題ないのではないか。
- ・ 中医協への報告のあり方は、例えば、非公開とした上で、公表資料においては企業名や製品名、もしくはそれが明示的になる呼称等を黒塗りとするなどの方法も含め、今後議論を行っていく。

○ 今後のスケジュールについて

(26.5.28 総-3より一部抜粋)

平成26年

6月 ・企業への説明

・参考人等による分析等の方針に関する相談

7～9月 ・企業によるデータ収集・分析

・必要に応じて、参考人等による分析等の方針に関する相談

10～12月 ・企業から提出されたデータ・分析の再分析等の検証

(目途)

- 上記のスケジュールを目途としながら、まずは、9月の〆切を念頭に企業から分析結果を提出いただく。
- 参考人においては、提出された分析結果を受け、順次再分析等の検証を進めることとし、引き続き進捗状況について中医協へ報告等を行うものとする。