

<ゾルゲンスマの費用対効果評価の経緯>

- 2020年5月13日に、中医協総会において費用対効果評価の対象品目としてH3（著しく保険償還価格が高いもの）指定された（※）。
 - ※ 適応である脊髄性筋萎縮症は指定難病であるが、著しく保険償還価格が高いものとして、中医協総会において指定された。
- 2021年10月の費用対効果評価専門組織で、製造販売業者から提出された分析データ等及び公的分析結果については、一定の科学的妥当性はあるものの、薬事承認時等のデータでは、費用対効果評価における長期有効性に関するデータが不足していることから、必要なデータ収集を行うこととし、分析を中断とする決定案が策定された（※）。
 - ※ 費用対効果評価において日本のゾルゲンスマの臨床実態を反映したデータが必要であるが、薬事承認時等のデータは、日本での臨床実態を反映した長期有効性に関するデータが不足しており、追加データが必要。
- 2021年12月の費用対効果評価専門組織で、追加データの収集計画案が策定された（※）。
 - ※ 分析再開には、既存の海外臨床試験と同程度以上の日本人長期データ、症例数の集積が必要と考える。したがって、年間10-20例、5年間のデータを収集するとして、2026年5月までデータ収集を計画。



<方針>

- ゾルゲンスマの費用対効果評価について、費用対効果評価専門組織での結果を踏まえ、追加のデータを収集するために、分析を一旦中断とする。
- 2026年5月まで必要なデータ収集を行い、年1回、費用対効果評価専門組織で進捗状況について報告を行う（その間に必要なデータが集まった場合には、早期に分析を再開する）。
- 必要なデータが集まった時点で速やかに分析を行い、その結果を、中医協総会に報告する。

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）

4 費用対効果評価専門組織の開催

（４）分析中断、評価中止及び分析再開に係る決定案の策定

- ① 製造販売業者及び国立保健医療科学院は、分析に必要なデータの不足等により分析が困難（以下「分析不能」という。）となった場合には、製造販売業者及び国立保健医療科学院が合意の上、対象品目の分析中断を申し出ることができる。ただし、製造販売業者が分析不能と判断した場合であっても、国立保健医療科学院が合意しなければ、対象品目の分析中断を申し出ることにはできない。この際、分析不能を理由に製造販売業者が分析を行わない場合にあつては、費用対効果評価専門組織は、公的分析結果のみを用いて費用対効果評価案を策定する。（後略）。
- ② 費用対効果評価専門組織は、①の申出を受けた場合その他必要があると認める場合には、次の事項について、分析中断又は評価中止の要否を専門的見地から審議する。
 - ア 製造販売業者又は国立保健医療科学院の申出内容
 - イ 分析中断又は評価中止とする科学的妥当性
 - ウ 分析中断の場合、分析再開のために必要なデータ、集積方法及び集積に要する期間
- ③ （略）。
- ④ 費用対効果評価専門組織は、②及び③の手続の結果を踏まえ、分析中断又は評価中止の要否（分析中断とする場合にあつては、データ集積に要する期間を検討した上で、当該期間の決定案及び理由を含む。）を、製造販売業者及び国立保健医療科学院に通知する。
- ⑤ （前略）費用対効果評価専門組織は、分析中断又は評価中止に関する決定案を中央社会保険医療協議会総会に報告する。
- ⑥ 中央社会保険医療協議会総会において分析中断とされた品目について、製造販売業者は定められた期間内にデータを集積する。製造販売業者は、集積したデータに基づいて、次に掲げる区分に応じ、それぞれ次に掲げる事項を費用対効果評価専門組織に報告する。
 - ア 分析再開が可能なもの
定められた期間内に必要なデータが集積され、分析の再開が見込まれる場合、製造販売業者は、集積したデータを費用対効果評価専門組織に報告する。費用対効果評価専門組織は、②から⑤までの手続に準じて、分析再開の要否に係る決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。中央社会保険医療協議会総会において分析再開が決定された場合、分析再開が決定された日の翌日から、2から4（製造販売業者による分析、公的分析、費用対効果評価専門組織の開催）までの手続により、対象品目の分析を行う。
 - イ 分析再開が不可能なもの
定められた期間内に必要なデータが集積されず、分析の再開が見込まれない場合、製造販売業者は、費用対効果評価専門組織にその旨を報告する。費用対効果評価専門組織は、製造販売業者の報告を踏まえ、②から⑤までの手続に準じて評価中止の要否にかかる決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。なお、評価中止が認められない場合、対象品目は最も小さな価格調整係数に該当するものとみなして価格調整を行う。
 - ウ 分析中断期間を延長するもの
定められた期間内に製造販売業者による分析の再開に必要なデータ集積が行われなかったものの、期間の延長により必要なデータ集積が行われ、分析の再開が見込まれる場合、費用対効果評価専門組織において、②から⑤までの手続に準じて期間の延長の要否及びその期間についての決定案を策定し、中央社会保険医療協議会総会に報告する。