新薬の費用対効果評価該当性に関する取扱いについて

費用対効果評価の対象品目の選定について

エブリスディについて　※令和３年８月４日中医協において審議

- 販売名　：エブリスディドライシロップ60mg（成分名：リスジプラム）
- 製造販売業者：中外製薬（株）
- 効能・効果　：脊髄性筋萎縮症【指定難病】
- 算定薬価　：60mg1瓶　974,463.70円
- 市場規模予測（ピーク時）：102億円（予測投与患者数：416人）

※薬価算定組織での費用対効果評価への該当性（案）

→ **該当しない**（指定難病に対する治療のみに用いるもの）

<現行ルール概要>

	区分	選定基準
新規収載品（制度化以後に収載）	H1	・ピーク時市場規模（予測）：100億円以上
	H2	・ピーク時市場規模（予測）：50億円以上100億円未満
	H3	・著しく保険償還価格が高いもの又は国立保健医療科学院の意見を参考にして評価に重要な影響を与える知見が得られたと判断されたものとして、中医協総会において費用対効果評価の対象とすることが適当とされた品目
既収載品（制度化以前に収載）	H4	・市場規模が1000億円以上の品目 ・その他、著しく単価が高い等、中医協総会において費用対効果評価の対象とすることが適当とされた品目
類似品目	H5	・H1～H4区分の対象品目を比較対照として算定された医薬品

- 以下に該当する医薬品は、原則としてHTAの対象としない。
  - **指定難病に対する治療のみに用いるもの**
  - 血友病の治療に係る製剤又はこれに類するもの
  - 抗ＨＩＶ薬
  - 小児のみに用いる医薬品
- ただし、これらのうち(i)販売額が350億円以上又は**(ii)著しく保険償還価格が高い品目等**は、中医協総会においてHTAの対象として適当と認められれば、対象とすることが可能。

収載時薬価と患者当たり年間薬剤費の比較

市場規模50億円超で、指定難病であることから費用対効果評価の対象外となった品目

収載日	品目	収載時薬価	ピーク時市場規模	ピーク時患者数	患者当たり年間薬剤費	対象疾患
R01.08	オンパットロ点滴静注2mg/mL	986,097	89億円	279人	約3,200万円	トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー【指定難病】
R01.11	クリースビータ皮下注30mg	911,812	75億円	443人	約1,700万円	FGF23関連低リン血症性くる病・骨軟化症【指定難病】
R02.05	ビルテプソ点滴静注250mg	91,136	54億円	128人	約4,200万円	デュシェンヌ型筋ジストロフィー【指定難病】
R02.08	エンスプリング皮下注120mgシリンジ	1,532,660	54億円	423人	約1,300万円	視神経脊髄炎スペクトラム障害【指定難病】
R03.04	オラデオカプセル150mg	74,228.20	67億円	246人	約2,700万円	遺伝性血管性浮腫【指定難病】
R03.05	イズカーゴ点滴静注用10mg	251,030	85億円	110人	約7,700万円	ムコ多糖症Ⅱ型【指定難病】
R03.05	ユプリズナ点滴静注100mg	3,495,304	59億円	317人	約1,900万円	視神経脊髄炎スペクトラム障害【指定難病】
R03.08	エブリスディドライシロップ60mg	974,463.70	102億円	416人	約2,500万円	脊髄性筋萎縮症【指定難病】
R03.11	アロフィセル注	5,620,004	52億円	920人	約570万円	非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療【指定難病】

※　過去に、指定難病であるがHTAの対象としたもの
・ゾルゲンスマ（脊髄性筋萎縮症）：H3区分（著しく保険償還価格が高い（収載時薬価1.67億円））
・ユルトミリス（発作性夜間ヘモグロビン尿症）：H1区分（年間販売額が350億円を超えると予想される）

ゾルゲンスマの費用対効果評価に係る取扱いについて

＜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。

費用対効果評価への該当性の取扱い

- 指定難病に対する医薬品の費用対効果評価の該当性について、
  - 財政影響が大きい品目を対象とするという観点では、年間販売額に基準が存在し、エブリスディは基準（350億円）より大幅に小さい。
  - 制度設計時に、指定難病については、対象患者数が少ないことから一定の配慮が必要とされている。
- 患者あたりの年間薬剤費で比較すると、エブリスディはこれまでの指定難病の医薬品と比べて高額とはいえない。
- 「著しく保険償還価格が高い品目」については、これまで費用対効果評価専門部会等において、単価（薬価）の高い品目を指すものとして取り扱っている。

※　なお、エブリスディと同じく脊髄性筋萎縮症を適応とするゾルゲンスマの費用対効果評価では、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いることから、追加のデータを収集するため、分析が一時中断されている。

- これまでの指定難病の医薬品との比較等を踏まえ、**エブリスディについてはHTAの対象とはしない**こととしてはどうか。

参考資料

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

（医政発0209第５号　保発0209第６号　令和４年２月９日）

１ 対象品目の指定

（１）対象品目の指定基準

　医薬品、医療機器及び再生医療等製品については、次のいずれにも該当する品目を、中央社会保険医療協議会総会において、費用対効果評価の対象として指定する。

① 次のいずれかの区分に該当すること。

（略）

② ア又はイに該当しないこと。ただし、ア又はイに該当するもののうち、年間販売額が350 億円以上の品目又は著しく保険償還価格が高い品目等として、中央社会保険医療協議会総会において費用対効果評価の対象とすることが適当と認められたものについては、①のアからオまでの区分に準ずる区分の対象品目として指定する。

ア 治療方法が十分に存在しない疾病（難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26 年法律第50 号）第５条第１項に規定する指定難病をいう。以下同じ。）に対する治療のみに用いるもの、血友病の治療に係る血液凝固因子製剤、血液凝固因子抗体迂回活性複合体若しくはこれに類するもの又は抗ＨＩＶ薬

イ 医薬品等の効能及び効果若しくは当該効能及び効果に係る用法及び用量又は医療機器等の使用目的若しくは効果に、小児（幼児、乳児、新生児及び低出生体重児を含む。以下同じ。）に係るものが明示的に含まれている医薬品等又は医療機器等（以下「小児に係る用法・用量等が承認された医薬品等又は医療機器等」という。）であって、小児のみに用いるもの

費用対効果評価の対象品目の指定基準

○　医療保険財政への影響度を重視する観点及び薬価・材料価格制度を補完する観点から、革新性が高く、財政影響が大きい医薬品・医療機器を費用対効果評価の主な対象とする。
○　基準については、対象となる品目数や現在の費用対効果評価に係る体制等を踏まえ、以下の通りとする。

	区分	類似薬効方式（類似機能区分）	原価計算方式	選定基準
（ｉ）新規収載品：制度化以後に収載される品目（※１）	Ｈ１	有用性系加算（※2）が算定	有用性系加算（※2）が算定、または開示度50%未満	・ピーク時市場規模（予測）：100億円以上
	Ｈ２			・ピーク時市場規模（予測）：50億円以上100億円未満
	Ｈ３			・分析枠組み決定後に効能追加されたもの又は著しく単価が高い等の中医協総会において必要と判断された品目（※３）
（ⅱ）既収載品：制度化以前に収載された品目	Ｈ４	算定方式によらず、有用性系加算（※2）が算定された品目		・市場規模が1,000億円以上の品目 ・その他、著しく単価が高い等の中医協総会において必要と判断された品目（※３）
類似品目	Ｈ５	Ｈ１～Ｈ４区分の類似品目		・代表品目（※４）を比較対照として算定された医薬品 ・代表品目（※４）を比較対照として算定され、同一機能区分に分類される医療機器

（※１）　保険収載時にピーク時市場規模（予測）が選定の要件に該当しなかった品目であっても、市場規模の拡大により、年間の市場規模が50億円を超えた場合は対象とする。その場合、年間の市場規模に応じてＨ１又はＨ２区分として位置付ける
（※２）　画期性加算、有用性加算、改良加算（ハ）（医療機器）のいずれかが算定された品目を対象とする
（※３）　分析枠組み決定後に効能追加されたもの又は著しく単価が高い品目、すでに費用対効果評価を行った品目のうち、評価終了後に評価に大きな影響を与える知見が得られ、再評価が必要であると認められた品目など、優先的に検証することが必要と中医協総会が判断した品目
（※４）　Ｈ１～Ｈ４区分における費用対効果評価の対象品目

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	・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 ・小児のみに用いられる品目（※２）	・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	・抗がん剤（※３）
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。