

# 費用対効果評価制度の見直しに関する 検討(その1)

# 費用対効果評価制度の見直しに係る主な論点

費用対効果評価制度の見直しに係る主な論点を、以下に示す。

## 1. これまでの制度運用の実績及び評価

## 2. 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

- 2-1. 分析プロセスの見直しについて
  - 2-1-1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて
  - 2-1-2. 分析前協議について
  - 2-1-3. 分析対象集団の取扱いの整理について
  - 2-1-4. 評価終了後の再評価プロセスについて
  - 2-1-5. 効能追加時の取扱いについて
- 2-2. 価格調整方法の見直しについて
  - 2-2-1. 費用増加の場合の取扱いについて
  - 2-2-2. 分析期間超過時の取扱いについて
  - 2-2-3. 患者割合の取扱いについて
  - 2-2-4. 介護費用の取扱いについて

## 3. 分析体制の在り方

- 3-1. 分析対象となる品目数の増加に対応した分析体制の強化について
- 3-2. 薬価算定組織との連携について

## 4. その他

# 本日の検討事項

## 1. これまでの制度運用の実績及び評価

## 2. 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

- 2-1. 分析プロセスの見直しについて
  - 2-1-1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて
  - 2-1-2. 分析前協議について
  - 2-1-3. 分析対象集団の取扱いの整理について
  - 2-1-4. 評価終了後の再評価プロセスについて
  - 2-1-5. 効能追加時の取扱いについて
- 2-2. 価格調整方法の見直しについて
  - 2-2-1. 費用増加の場合の取扱いについて
  - 2-2-2. 分析期間超過時の取扱いについて
  - 2-2-3. 患者割合の取扱いについて
  - 2-2-4. 介護費用の取扱いについて

## 3. 分析体制の在り方

- 3-1. 分析対象となる品目数の増加に対応した分析体制の強化について
- 3-2. 薬価算定組織との連携について

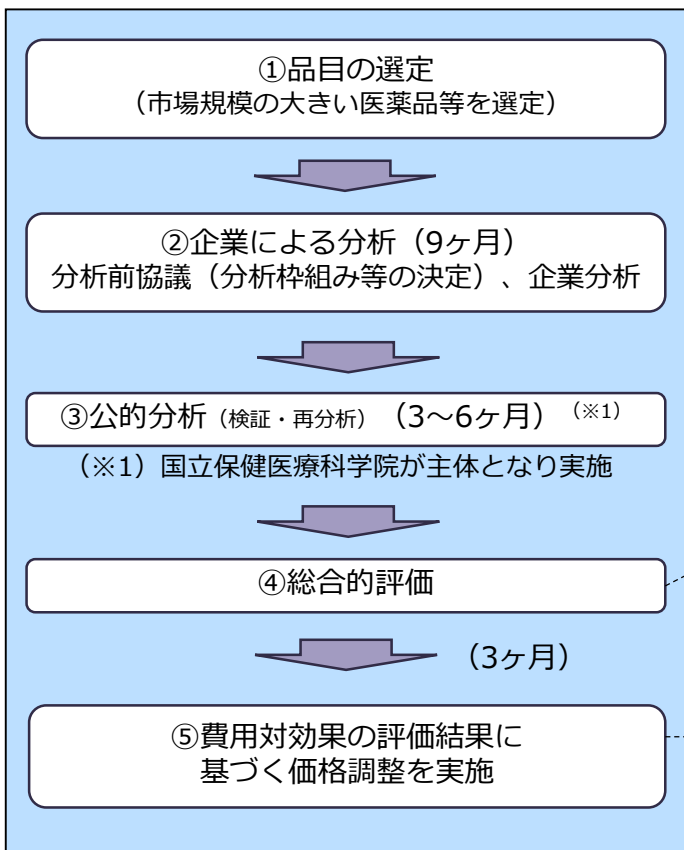
## 4. その他

## これまでの制度運用の実績及び評価について

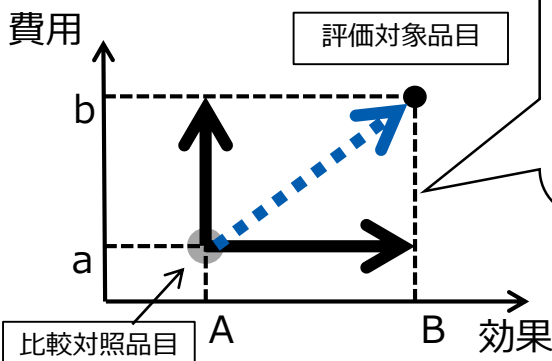
# 費用対効果評価制度について（概要）

- 費用対効果評価制度については、中央社会保険医療協議会での議論を踏まえ、2019年4月から運用を開始した。
- 市場規模が大きい、又は著しく単価が高い医薬品・医療機器を評価の対象とする。ただし、治療方法が十分に存在しない稀少疾患（指定難病等）や小児のみに用いられる品目は対象外とする。
- 評価結果は保険償還の可否の判断に用いるのではなく、いったん保険収載したうえで価格調整に用いる（薬価制度の補完）。
- 今後、体制の充実を図るとともに事例を集積し、制度のあり方や活用方法について検討する。

## 【費用対効果評価の手順】



(注) カッコ内の期間は、標準的な期間



評価対象品目が、既存の比較対照品目と比較して、費用、効果がどれだけ増加するかを分析。

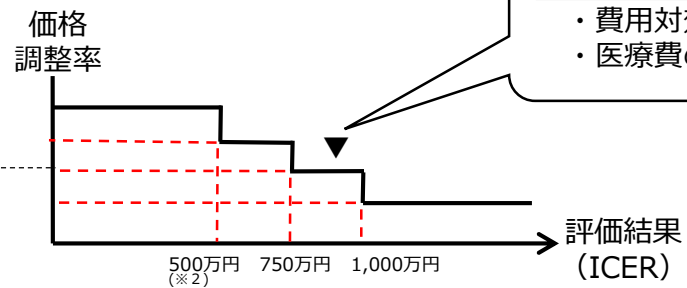
$$\text{増分費用効果比 (ICER)} = \frac{b-a \text{ (費用がどのくらい増加するか)}}{B-A \text{ (効果がどのくらい増加するか)}}$$

健康な状態での1年間の生存を延長するために必要な費用を算出。

総合的評価にあたっては、希少な疾患や小児、抗がん剤等の、配慮が必要な要素も考慮(※2)

評価結果に応じて対象品目の価格を調整(※3)

- ・費用対効果の悪い品目は価格を引下げ
- ・医療費の減少につながる品目等は価格を引上げ



(※2) 抗がん剤等については、通常よりも高い基準 (750万円/QALY) を用いる。  
(※3) 価格調整範囲は有用性系加算等

## 費用対効果評価対象品目（評価終了品目を除く）（令和3年8月4日時点）

No.	総会指定	品目名	効能・効果	記載時価格※1	うち有用性系加算率	市場規模（ピーク時予測）	費用対効果評価区分	総会での指定日	現状
1	7	ノクサフィル※3 (MSD)	深在性真菌症	3,109.10円（100mg錠）	なし	112億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/4/8	公的分析中
2	8	カボメテクス (武田薬品工業)	腎細胞癌、 肝細胞癌※5	8,007.60円（20mg錠） 22,333.00円（60mg錠）	10%	127億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/5/13	公的分析中※5
3	9	エンハーツ (第一三共)	乳癌、胃癌※4	165,074円	5%	129億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/5/13	公的分析中※4
4	10	ゾルゲンスマ (バルティスファーマ)	脊髄性筋萎縮症	167,077,222円	50%	42億円	H3（単価が高い）	2020/5/13	公的分析中
5	13	リベルサス (ホルティスファーマ)	2型糖尿病	143.20円（3mg錠） 334.20円（7mg錠） 501.30円（14mg錠）	5%	116億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/11/11	企業分析中
6	15	エムガルディ (日本イライリ)	片頭痛	45,165円（120mg 1mL 1キット） 44,940円（120mg 1mL 1筒）	なし	173億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/4/14	分析前協議中
7	17	ポライビー (中外製薬)	リンパ腫	298,825円（30mg） 1,364,330円（140mg）	5%	120億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
8	18	ダラキューロ (ヤンセンファーマ)	多発性骨髄腫	432,209円	5%	370億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
9	19	アリケイス (インスト)	肺非結核性抗酸菌症	42,408.40円	10%×0.2※2 (2%)	177億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
10	22	アジヨビ (大塚製薬)	片頭痛	41,356円（225mg 1.5mL 1筒）	なし	137億円	H5（エムガルディの類似品目）	2021/8/4	分析は行わない（エムガルディの評価に準じる）
11	23	アイモビーグ (アムジエン)	片頭痛	41,356円（70mg 1mL 1キット）	なし	153億円	H5（エムガルディの類似品目）	2021/8/4	分析は行わない（エムガルディの評価に準じる）
12	24	レベスティブ (武田薬品工業)	短腸症候群	79,302円（3.8mg 1瓶）	5%×0.2※2 (1%)	60億円	H2（市場規模が50億円以上）	2021/8/4	-
13	25	ベクルリー (キリアド・サインズ)	SARS-CoV-2による 感染症	63,342円（100mg 1瓶）	なし	181億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/8/4	-

※1 記載時価格は、キット特徴部分の原材料費除いた金額。

※2 加算係数（製品総原価の開示度に応じた加算率）・・・開示度80%以上：1.0、50～80%：0.6、50%未満：0.2

※3 ノクサフィルは内用薬（ノクサフィル錠100mg）のみが費用対効果評価対象。

※4 胃癌については令和2年9月25日に効能追加され、公的分析中。

※5 肝細胞癌については令和2年11月27日に効能追加され、企業分析中。

## 費用対効果評価終了品目（令和3年8月4日時点）

No.	総会指定	品目名	効能・効果	市場規模 (ピーク時予測)	費用対効果評価 区分	総会での 指定日	調整前価格	調整後価格	適用日
1	1	テリルジー100エリブ タ(ゲラクリ・スミクライ)	COPD(慢性閉 塞性肺疾患)	236億円	H1(市場規模が 100億円以上)	2019/5/15	4,183.50円(14吸入1キット) 8,853.80円(30吸入1キット)	4,160.80円(14吸入1キット) 8,805.10円(30吸入1キット)	2021/7/1
2	2	キムリア (バルティスファーム)	白血病	72億円	H3(単価が高 い)	2019/5/15	34,113,655円	32,647,761円	2021/7/1
3	3	ユルトミリス (アルカシオファーム)	発作性夜間ヘモ グロビン尿症	331億円	H1(市場規模が 100億円以上)	2019/8/28	730,894円	699,570円	2021/8/1
4	4	ビレーズトリエアロス フィア(アストゼ)社	COPD(慢性閉 塞性肺疾患)	189億円	H5(テリルジー の類似品目)	2019/8/28	4,150.30円	4,127.60円	2021/7/1
5	12	エナジア (バルティスファーム)	気管支喘息	251億円	H5(テリルジー の類似品目)	2020/8/19	291.90円(中用量) 333.40円(高用量)	290.30円(中用量) 331.50円(高用量)	2021/7/1
6	14	テリルジー200エリブ (ゲラクリ・スミクライ)	COPD(慢性閉 塞性肺疾患)	130億円	H5(テリルジー の類似品目)	2021/2/10	4,764.50円(14吸入1キット) 10,098.90円(30吸入1キット)	4,738.50円(14吸入1キット) 10,043.30円(30吸入1キット)	2021/7/1
7	16	イエスカルタ (第一三共)	リンパ腫	79億円	H5(キムリアの 類似品目)	2021/4/14	34,113,655円	32,647,761円	2021/4/21
8	20	ブレヤンジ (セルジーン)	リンパ腫	82億円	H5(キムリアの 類似品目)	2021/5/12	34,113,655円	32,647,761円	2021/5/19
9	5	トリンテリックス (武田薬品工業)	うつ病・うつ状態	227億円	H1(市場規模が 100億円以上)	2019/11/13	168.90円(10mg錠) 253.40円(20mg錠)	161.70円(10mg錠) 242.50円(20mg錠)	2021/11/1
10	6	コララン (小野薬品工業)	慢性心不全	57.5億円	H2(市場規模が 50億円以上)	2019/11/13	82.90円(2.5mg錠) 145.40円(5mg錠) 201.90円(7.5mg錠)	変更なし	-
11	11	エンレスト (バルティスファーム)	慢性心不全	141億円	H5(コラランの 類似品目)	2020/8/19	65.70円(50mg錠) 115.20円(100mg錠) 201.90円(200mg錠)	変更なし	-
12	21	ベリキューボ (バ イル薬品)	慢性心不全	95億円	H5(エンレスト の類似品目)	2021/8/4	131.50円(2.5mg錠) 230.40円(5mg錠) 403.80円(10mg錠)	変更なし	2021/8/12

## 費用対効果評価終了品目の検討期間（令和3年8月4日時点）

これまでに費用対効果評価を終了した品目（H5区分を除く。）について、検討に要した期間等を、以下に示す。

No.	総会指定	品目名	効能・効果	総会での指定日	分析枠組み決定	企業分析結果提出	企業分析結果確定	公的分析結果提出	費用対効果評価案策定	総会での評価決定	総会での価格決定	価格適用日
1	1	テリルジー100エリブタ（グラク・スミスクライン）	COPD（慢性閉塞性肺疾患）	2019/5/15	4.9か月	11.2か月	12.4か月	18.2か月	21.8か月	22.6か月	23.3か月	25.9か月
2	2	キムリア（バルティスファーム）	白血病	2019/5/15	4.9か月	9.2か月	11.6か月	17.3か月	20.3か月	22.6か月	23.3か月	25.9か月
3	3	ユルトミリス（アルカオンファーム）	発作性夜間ヘモグロビン尿症	2019/8/28	3.7か月	9.1か月	10.3か月	16.2か月	19.3か月	19.8か月	20.8か月	23.5か月
4	5	トリンテリックス（武田薬品工業）	うつ病・うつ状態	2019/11/13	4.6か月	9.1か月	10.8か月	16.6か月	18.2か月	18.7か月	21.0か月	24.0か月
5	6	コララン（小野薬品工業）	慢性心不全	2019/11/13	4.5か月	9.1か月	10.9か月	16.6か月	18.2か月	18.7か月	21.0か月	-

### （現行の規定）

- 製造販売業者は、中央社会保険医療協議会総会において対象品目が指定された日から、（中略）分析データ等を、原則として9か月以内に費用対効果評価専門組織に提出しなければならない。

9か月

3か月  
又は  
6か月

### （現行の規定）

- 国立保健医療科学院は、4（2）に規定する費用対効果評価専門組織の審議が終了した日から、原則として3か月以内（公的分析班が再分析を行う場合にあっては、6か月以内）に費用対効果評価専門組織に公的分析結果を提出しなければならない。

### （補足）

- ・ 分析枠組み決定、企業分析結果確定、費用対効果評価案策定までの期間は、総会での指定日から各内示回答日までの期間（月）を示す。
  - ・ 企業分析結果提出及び公的分析結果提出までの期間は、総会での指定日から各結果提出までの期間（月）を示す。
- なお、企業分析結果はテリルジー（2か月遅延）を除き9か月以内に、公的分析結果は全て6か月以内に提出された。



# これまでの実施状況を踏まえた課題

これまでの個別品目に係る分析の実施状況を踏まえた、費用対効果評価制度に係る主な課題について、以下に示す。

## 分析期間について

- テリルジーについて、決定された分析枠組みに沿った分析に時間を要したこと等により、企業からの分析データ等の提出が遅れることとなった。
- テリルジー及びキムリアについて、新型コロナウイルス感染症への対応に伴い、専門組織の開催を遅らせたこと等により、総合的評価案策定までの期間が延長した。
- 全ての品目について、総合的評価案策定までに18か月以上を要した。

## 分析枠組みの設定について

- テリルジーについて、12の分析対象集団を設定し分析を進めたところ、臨床実態を踏まえると、分析する価値がないと考えられる分析対象集団が存在した。

## 分析結果等の公表について

- キムリアについて、企業秘密に該当するとのことから、患者割合を公表しないこととされた。

## 運用の整理が必要な事項について

(費用増加の取扱い)

- テリルジー、ユルトミリス及びトリンテリックスについて、分析結果が「比較対照技術に対し、効果が同等であり、かつ費用が増加するもの(費用増加)」となった集団の価格調整に当たっては、最も小さな価格調整係数を用いることとされた。
- ユルトミリスについて、薬価算定の段階では、投与間隔の延長により加算が認められていたが、費用対効果評価の結果、定量的な健康関連QOLの改善が示されなかったことから、「費用増加」として評価された。

(分析不能とされた場合の取扱い)

- トリンテリックスについて、分析データの不足により一部の分析集団が「分析不能」とされ、当該集団の臨床上の意義や患者割合、追加情報の確保の見込み等を踏まえ、当該集団を除外した上で品目全体の評価を行うこととされた。

# (参考) テリルジ-の費用対効果評価及び価格調整について

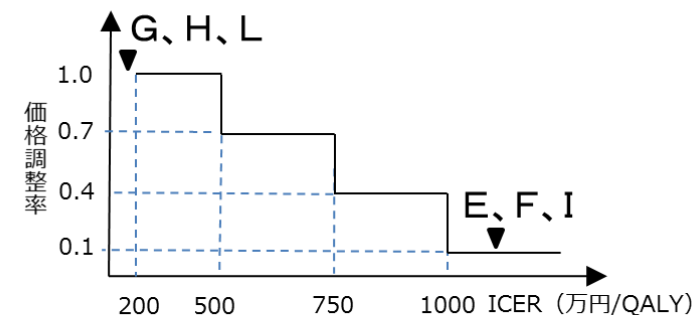
- 対象品目名：テリルジ-100エリプタ14吸入用、同30吸入用（フルチカゾンフランカルボン酸エステル・ウメクリジニウム臭化物・ビランテロールトリフェニル酢酸塩）
  - 製造販売業者名：グラクソ・スミスクライン株式会社
  - 効能又は効果：
    - A. 気管支喘息
    - B. 慢性閉塞性肺疾患（慢性気管支炎・肺気腫）の諸症状の緩解
- ※ 上記Aの効能又は効果は、令和2年11月27日に追加されたものであり、上記Bに対する企業分析の終了後であるため分析の対象とはならない。

## 【費用対効果評価結果について】

対象集団	前治療	前治療詳細	好酸球数	比較対照技術	ICER (円/QALY)	患者割合 (%) *
A	3剤併用	MITT※1 (2製剤吸入における3剤併用)	100/μL未満	MITT※1 (2製剤吸入における3剤併用)	費用削減※5	4.5
B			100/μL以上		費用削減※5	14.0
C	3剤併用	MITT (2製剤吸入における3剤併用)	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	分析不能※6	0
D			100/μL以上		分析不能※6	0
E	3剤併用	MITT (2製剤吸入における3剤併用)	100/μL未満	LAMA※4/LABA※3	費用増加※7	0.1
F			100/μL以上		費用増加※7	0.2
G	2剤併用	ICS※2/LABA※3	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	200万円/QALY未満	14.0
H			100/μL以上		200万円/QALY未満	40.2
I	前治療： 2剤併用 (LAMA※4/LABA) もしくは 前治療単剤 (LAMA)		100/μL未満	LAMA※4/LABA※3	費用増加※7	6.5
J			100/μL以上		Dominant※8	19.7
K	単剤	LAMA	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	Dominant※8	0.2
L			100/μL以上		200万円/QALY未満	0.7

- \* NDBに基づく患者割合  
 ※1 MITT (複数回吸入による)3剤併用療法 (LAMA/LABA/ICS)  
 ※2 ICS 吸入ステロイド薬  
 ※3 LABA 長時間作用型β2刺激薬  
 ※4 LAMA 長時間作用性抗コリン薬  
 ※5 効果が同等で費用が削減されるもの  
 ※6 データが存在しない  
 ※7 効果が同等で費用が増加するもの  
 ※8 効果が高く、費用が削減されるもの

有用性系加算等の価格調整率



$$\text{価格調整後の有用性系加算等} = \text{価格調整前の有用性系加算等} - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率})$$

ICERが算出不可能なもの

- A、B：費用削減（価格調整率1.0）
- C、D：分析不能（価格調整から除外）
- J、K：Dominant（価格調整率1.0）

## 【価格調整について】

**現行薬価**            4,183.5円（14吸入）    8,853.8円（30吸入）  
**調整後の薬価**    4,160.8円（14吸入）    8,805.1円（30吸入）  
 （薬価全体の0.5%減額（14吸入）薬価全体の0.6%減額（30吸入））

# (参考) キムリアの費用対効果評価及び価格調整について

- 対象品目名：キムリア点滴静注（チサゲンレクルユーセル）
- 製造販売業者名：ノバルティスファーマ株式会社
- 効能、効果又は性能：
  - A. 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病
  - B. 再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫

## 【費用対効果評価結果について】

対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
A. 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 (B-ALL)			
① 15歳未満の集団	ブリナツモマブ (同種造血幹細胞移植 (同種HSCT) を含む)	200万円/QALY以上750万円/QALY未満	※1
② 15歳以上25歳以下の集団	ブリナツモマブ (同種HSCTを含む)	200万円/QALY以上750万円/QALY未満	※1
③ 15歳以上25歳以下の集団	イノツズマブ オゾガマイシン (同種HSCTを含む)	200万円/QALY以上750万円/QALY未満	※1
B. 再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL)			
④ 70歳未満の患者	サルベージ化学療法+/-同種HSCT	750万円/QALY以上1,125万円/QALY未満	※1
⑤ 70歳以上の患者	サルベージ化学療法	1,125万円/QALY以上1,500万円/QALY未満	※1

※1 患者割合については、企業秘密に当たることから非公表。

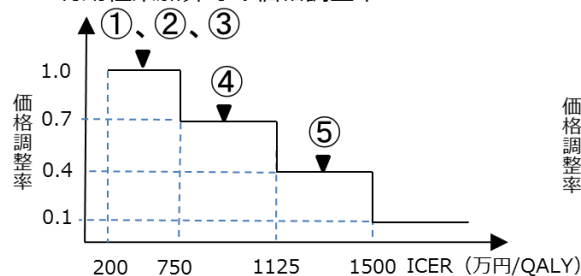
## 【価格調整について】

現行薬価 34,113,655円

調整後の薬価 32,647,761円

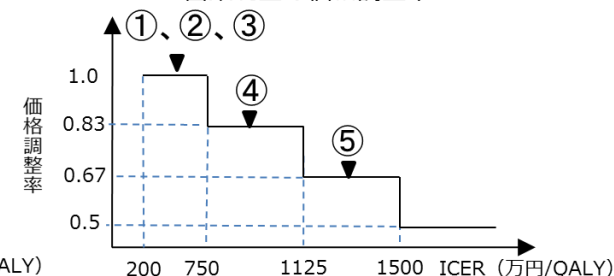
(薬価全体の4.3%減額)

有用性系加算等の価格調整率



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\ & = \text{価格調整前の有用性系加算等} \\ & \quad - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

営業利益の価格調整率



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の営業利益率} \\ & = \text{価格調整前の営業利益率} \\ & \quad - \text{営業利益率} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

## (参考) ユルトミリスの費用対効果評価及び価格調整について

- 対象品目名：ユルトミリス点滴静注(ラブリズムマブ)
- 製造販売業者名：アレクシオンファーマ合同会社
- 効能又は効果：

A. 発作性夜間ヘモグロビン尿症

B. 非典型溶血性尿毒症症候群

※ 上記Bの効能又は効果は、令和2年9月25日に追加されたものであり、上記Aに対する企業分析の終了後であるため分析の対象とはならない。

### 【費用対効果評価結果について】

対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
発作性夜間ヘモグロビン尿症	ソリリス点滴静注 (エクリズムマブ)	費用増加	100

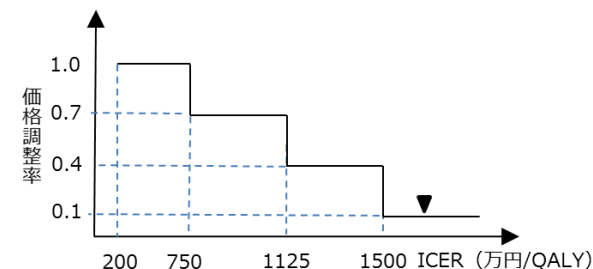
### 【価格調整について】

現行薬価 730,894円

調整後の薬価 699,570円

(薬価全体の4.3%減額)

有用性系加算等の価格調整率



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\ = & \text{価格調整前の有用性系加算等} \\ & - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

## (参考) トリンテリックスの費用対効果評価及び価格調整について

- 対象品目名：トリンテリックス錠10mg ・ 同20mg (ボルチオキセチン臭化水素酸塩)
- 製造販売業者名：武田薬品工業株式会社
- 効能又は効果：うつ病・うつ状態

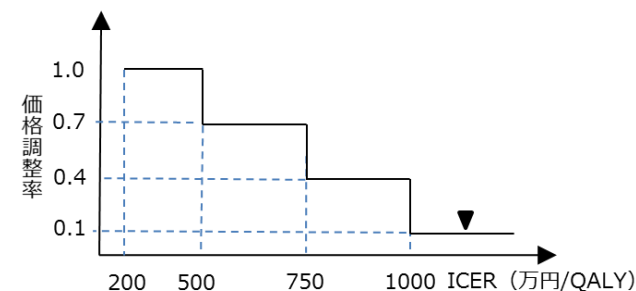
### 【費用対効果評価結果について】

対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
中等度以上のうつ病・ うつ状態	ミルナシプラン	費用増加	100

\* 分析枠組みで設定された「軽度のうつ病・うつ状態の患者」については、本品目の費用対効果評価から除外することが妥当と費用対効果評価専門組織において判断した。

**現行薬価**            168.90円 (10mg錠)    253.90円 (20mg錠)  
**調整後の薬価**    161.70円 (10mg錠)    242.50円 (20mg錠)  
 (薬価全体の4.3%減額 (10mg錠) 薬価全体の4.5%減額 (20mg錠))

有用性系加算等の価格調整率



$$\begin{aligned}
 & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\
 = & \text{価格調整前の有用性系加算等} \\
 & - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率})
 \end{aligned}$$

## (参考) コラランの費用対効果評価及び価格調整について

- 対象品目名：コララン錠2.5mg・同5mg・同7.5mg(イバブラジン塩酸塩)
- 製造販売業者名：小野薬品工業株式会社
- 効能又は効果：洞調律かつ投与開始時の安静時心拍数が75回/分以上の慢性心不全  
ただし、β遮断薬を含む慢性心不全の標準的な治療を受けている患者に限る。

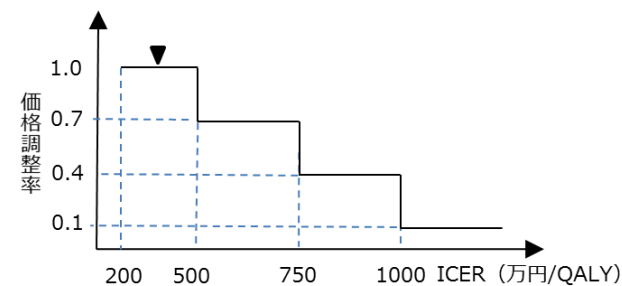
### 【費用対効果評価結果について】

対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
β遮断薬、アンジオテンシン変換酵素(ACE)阻害薬またはアンジオテンシン受容体拮抗薬(ARB)、抗アルドステロン薬(MRA)を投与している、あるいはそれらに禁忌または忍容性のないと判断される、左室駆出率が35%以下、洞調律下での安静時心拍数75回/分以上の成人慢性心不全	プラセボ※1	200万円/QALY以上 500万円/QALY以下	100

※1 コララン+標準的な治療vsプラセボ+標準的な治療を比較しており、標準的な治療とは、β遮断薬、ACE阻害薬あるいはARB、MRAの投与を指す。

現行薬価	82.90円 (2.5mg錠)	145.40円 (5mg錠)
調整後の薬価	変更なし (2.5mg錠)	変更なし (5mg錠)
	201.90円 (7.5mg錠)	変更なし (7.5mg錠)

有用性系加算等の価格調整率



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\ = & \text{価格調整前の有用性系加算等} \\ & - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

## 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

### 2 - 1 . 分析プロセスの見直しについて

#### 2 - 1 - 1 . 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

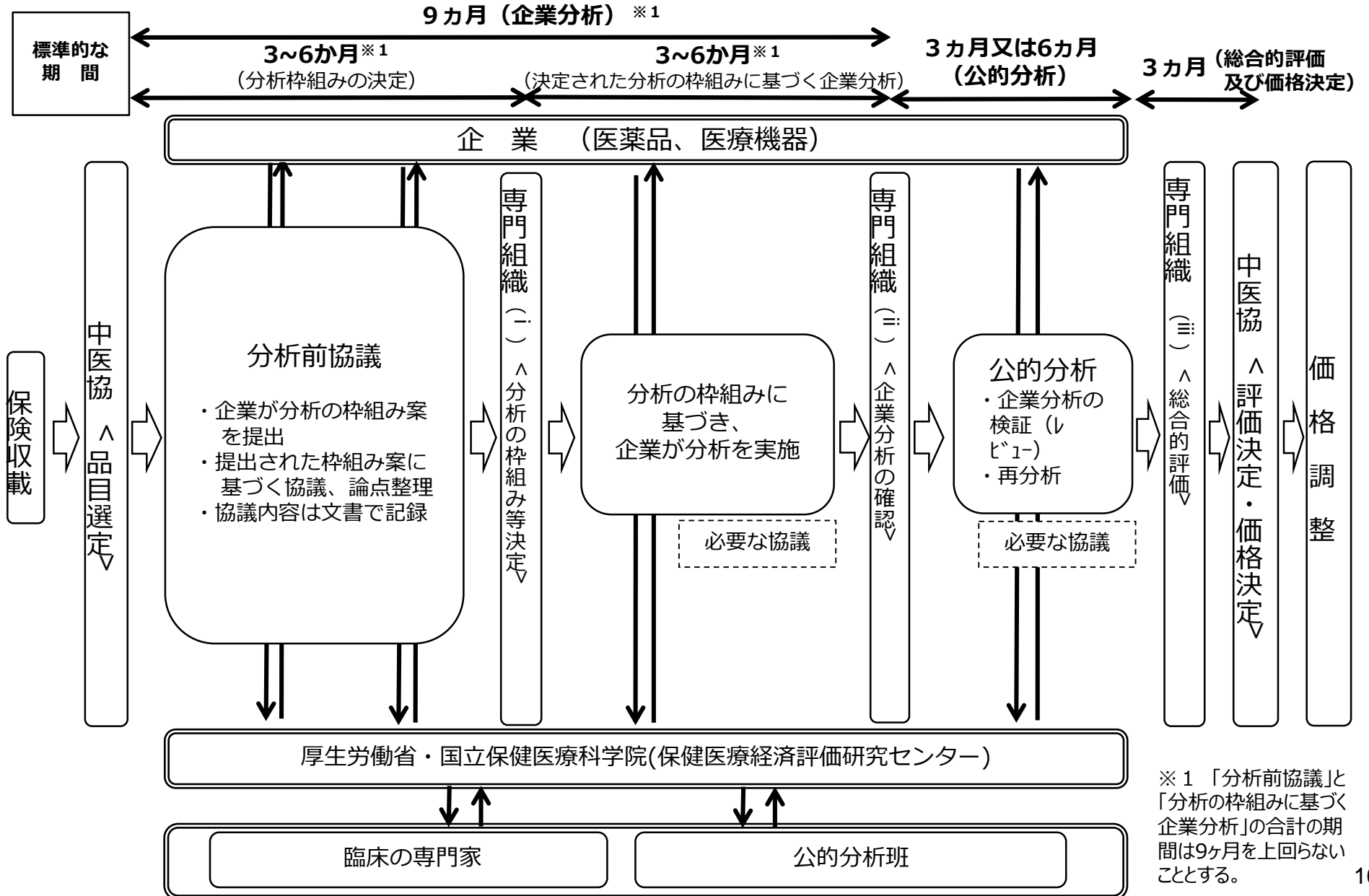
#### 2 - 1 - 2 . 分析前協議について

#### 2 - 1 - 3 . 分析対象集団の取扱いの整理について

#### 2 - 1 - 4 . 評価終了後の再評価プロセスについて

#### 2 - 1 - 5 . 効能追加時の取扱いについて

# 費用対効果評価の分析・評価の流れ



※1 「分析前協議」と「分析の枠組みに基づく企業分析」の合計の期間は9ヶ月を上回らないこととする。



## 標準的な分析プロセス及び分析期間に係るこれまでの議論について ①

### 医療保険部会（令和2年9月16日）

- 2019年度から導入された仕組みであり、企業分析における課題等も出てきているため、まずは中医協において、実施状況をしっかり検証し、制度の成熟度を高めるとともに、現行最大で1年半かかる保険収載から価格調整までの期間をできる限り短縮していくことが先決。

### 中医協総会（令和2年10月28日）

- 2019年度から制度の運用が開始されたところであり、まずは、その影響の検証、課題の抽出などを行うべき。
- 今後の分析結果や課題について検証し、フィードバックしていくことがまず重要。
- まずは現行の仕組み（評価の流れ、評価期間、閾値、価格調整のあり方）の妥当性を検証する必要がある。
- まずは国内の実施事例の集積・検証をスピード感を持って進めていくことが必要。現行の制度について、迅速な価格調整の観点から、保険収載から価格調整までの期間をできるだけ短縮していくこと、対象品目数を増やしていくことが目下の重要な課題。
- まずは、今の仕組みの実施状況を検証して、制度の成熟度を高めるための検討を進めていく必要がある。

### 中医協総会（令和3年2月10日）

- 費用対効果評価に係る標準的な期間に企業分析や公的分析の期限については設定されているが、専門組織の議論の期間については設定されていない。全体的な評価期間の在り方と、専門組織の期間についても事前に設定しておくべき。

## 費用対効果評価専門組織意見書

### (1) 専門組織における検討に要する期間について

#### 【現状及び課題】

- 現行の制度においては、企業分析及び公的分析に係る期間は規定されているが、専門組織における検討に要する期間について規定はない。(特に、専門組織(ii)、(iii)は、企業分析や公的分析の期間に含まれないため、これに要する期間は価格調整までの期間に影響を及ぼす。)

#### 現行の規定

- ・ 製造販売業者は、対象品目が指定された日から、分析方法、条件及びICERを含む分析結果のデータ(以下「分析データ等」という。)を、原則として9か月以内に費用対効果評価専門組織に提出しなければならない。
  - ・ 国立保健医療科学院は、製造販売業者による分析結果に係る費用対効果評価専門組織の審議が終了した日から、公的分析結果を、原則として3か月以内(公的分析班が再分析を行う場合にあっては、6か月以内)に費用対効果評価専門組織に提出しなければならない。
- 専門組織における検討に関しては、原則毎月定例的に開催しており、資料の提出から専門組織の開催まで概ね1か月程度(最長2か月程度)の期間が必要である。また、専門組織においては、会議の席上で結論が得られず引き続き書面での協議を行う場合もある。更に、企業から不服意見が出された場合には、再度専門組織を開催することとなる。現状においては、専門組織の開催頻度を高めることは困難である。

#### 【対応案】

- 専門組織における検討に要する期間については、資料の提出後必要な期間を確保する必要があることを念頭に、費用対効果評価の流れを現状(別紙(1))から別紙(2)のとおり見直すこととしてはどうか。

## 費用対効果評価専門組織意見書

### (2) 専門組織における検討内容について

#### 【現状及び課題】

- 現状の制度においては、専門組織（ii）＜企業分析結果の確認＞の段階で企業分析の評価を行い、専門組織（iii）＜総合的評価＞の段階において公的分析も含めた総合的評価を行うこととされている。
- これまでの事例により、現在の検討の進め方について以下の課題があることが分かった。
  - ・ 専門組織（ii）の段階では、公的分析による検証（レビュー）は行われておらず、相対的な観点から企業分析の評価を行うことができない。
  - ・ 専門組織（iii）の段階の総合的評価は、公的分析（検証及び再分析）の終了後に、企業分析も含めた分析結果の科学的妥当性の評価を行い、それを踏まえ追加分析の要否等を検討することになっている。これまでの事例において、専門組織における評価をより適切に実施するためには、公的分析が実施する再分析に対し、専門組織から企業分析の評価も含めた指摘を行うことや、追加分析を行いやすくすることが重要であることがわかった（仮に追加分析を行った場合、分析期間のさらなる延長を招く。なお、これまでの品目では、専門組織が公的分析に対し追加分析を指示したことはない。）。
- 現在、企業による不服意見書の提出の機会として、専門組織（i）、（ii）及び（iii）において、それぞれ、一度ずつ、保証されているが、専門組織（ii）及び（iii）においては、その対応に要する期間は、費用対効果評価に要する期間全体に影響する。
- 英国では、日本の専門組織に当たる組織としてNICE（National Institute for Health and Care Excellence）におけるAppraisal committeeがある。Appraisal committeeは、企業分析や大学等（ERG：Evidence Review Group）による公的分析を踏まえ当該品目の費用対効果評価を取りまとめ、その結果に基づき意思決定に係るガイダンスを出している。また、特に結果の解釈に当たって必要な場合には、企業や大学等に追加分析等を指示する場合がある。

なお、英国では、企業はAppraisal committeeに参加するものの、委員長の指示の元で事実関係等を述べる機会が与えられるものであり、Appraisal committee の決定に対して委員会ですべてを述べる機会はない。

## 費用対効果評価専門組織意見書

### (2) 専門組織における検討内容について

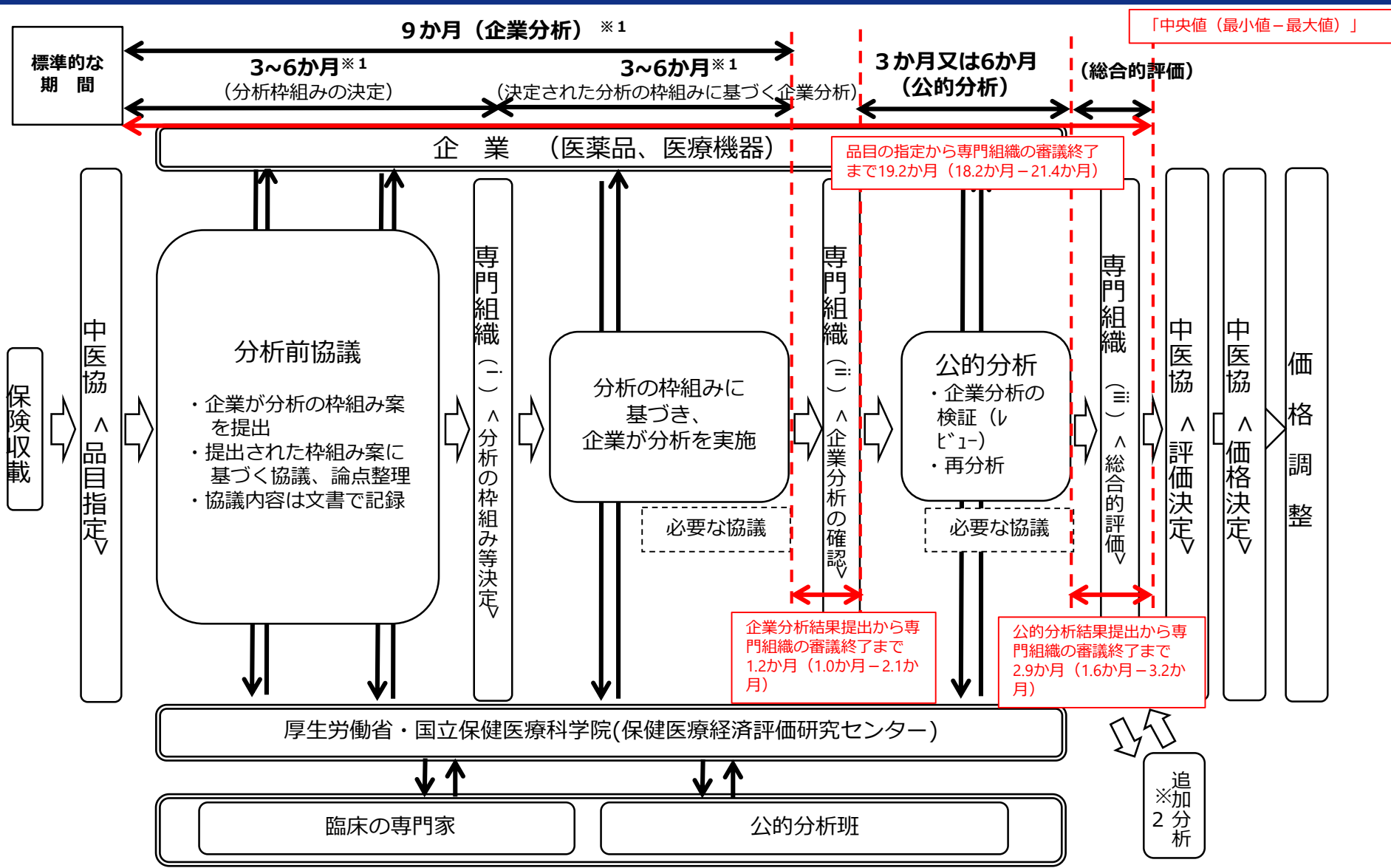
#### 【対応案】

- 費用対効果評価専門組織における議論を適切に進めるため、現在、企業分析が提出された時点で開催している専門組織（ii）について、公的分析による検証（レビュー）が終了した時点で開催することとしてはどうか。  
また、この場合、専門組織（ii）は、企業からの報告とともに、公的分析からの検証結果及び再分析の案について報告を受け、再分析の具体的な内容に対する指摘や追加分析の必要性に関する判断を行うこととしてはどうか。
- 企業からの不服意見書の提出について、企業の理解や納得を得るという観点から、その機会を設けることに一定の意義はあるが、それにより費用対効果評価に要する期間が長引くことは国民の利益にはつながらないことや、英国での制度の運用等を踏まえ、専門組織（ii）及び（iii）における企業からの不服意見書の提出の機会を、引き続き確保することとしつつ、専門組織（iii）においては、専門組織が認めた場合に限り、会議を開催し、不服意見の聴取を行うこととしてはどうか。
- 上記を踏まえ、費用対効果評価の流れを現状（別紙（1））から別紙（2）のとおり見直すこととしてはどうか。

別紙（1）：企業分析結果が提出された後、委員による資料確認等に要する一定の期間において、専門組織（ii）を開催し、企業分析結果の科学的妥当性等を審査して、公的分析に移行する。公的分析結果が提出された後、同様に一定の期間において、専門組織（iii）を開催するが、当該専門組織において追加分析の指示が出た場合には、全体としての分析期間（費用対効果評価案の決定までの期間）が延長することとなる。更に、企業から不服意見があった場合、再度不服意見を聴取する専門組織を開催することとなり、同様に、費用対効果評価案の決定までの期間が延長することとなる。

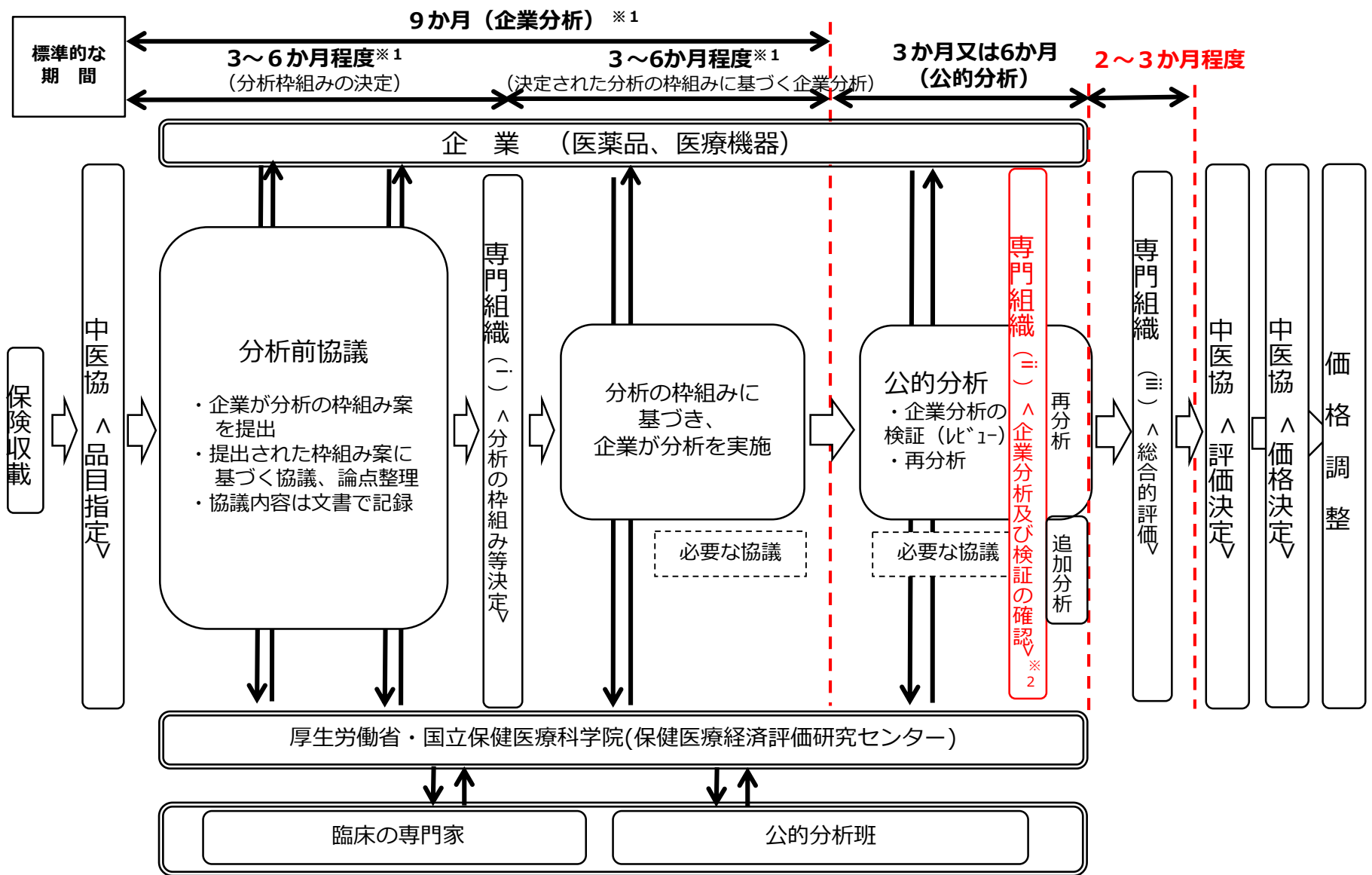
別紙（2）：企業分析結果が提出された後、速やかに公的分析に移行する。企業分析結果の提出後4か月程度時点で、公的分析の検証結果とともに企業分析結果の科学的妥当性を審査する専門組織（ii）を開催することで、専門組織（ii）の開催までの間の分析の中断をなくす。また、再分析が必要な場合には、専門組織（ii）において再分析案について提示するとともに、必要な追加分析の指示が出た場合には、公的分析の分析期間内に実施することとする。なお、それぞれの専門組織においては、企業からの不服意見の聴取を必要に応じて実施する。

# (別紙1) 費用対効果評価の分析・評価の流れ【実績】



※1 「分析前協議」と「分析の枠組みに基づく企業分析」の合計の期間は9ヶ月を上回らないこととする。  
 ※2 追加分析が必要な場合は総合的評価に係る期間が延長する可能性がある。

# (別紙2) 費用対効果評価の分析・評価の流れ【見直し案】



※1 「分析前協議」と「分析の枠組みに基づく企業分析」の合計の期間は9ヶ月を上回らないこととする。  
 ※2 公的分析の結果、再分析まで実施した場合を示している。

## 標準的な分析プロセス及び分析期間に係るこれまでの議論について ②

### 費用対効果評価専門部会（7月21日）

- 費用対効果評価の結果を速やかに価格に反映させるという観点から、検討に要する期間について、全体のスケジュールが明確になり、所要期間も短縮できるということであれば、それがしっかり守られるように運用をお願いしたい。
- 総合的評価から価格決定までの標準的な期間を提示する必要があるのではないか。

### 業界意見陳述（令和3年8月4日）

- 企業が事前に想定できない分析の枠組みとされた場合、企業の分析期間を再設定する運用についても、検討してほしい。
- 分析前協議が終了した後の合意された分析枠組みに基づく企業分析の期間については、少なくとも6か月確保してほしい。
- 企業分析期間を一律に9か月とするのではなく、分析枠組みが決定する事前協議が終了した段階で、品目ごとに企業ごとの企業分析の期間を定めてほしい。
- 総合的評価案への不服意見の聴取の機会について、分析の枠組みや比較対照技術の選定など、企業が想定していない内容となる場合があることを踏まえ、専門組織の判断にかかわらず、現行どおり不服意見の聴取を企業の希望に基づいて行ってほしい。



# 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しに係る論点

## 現状・課題

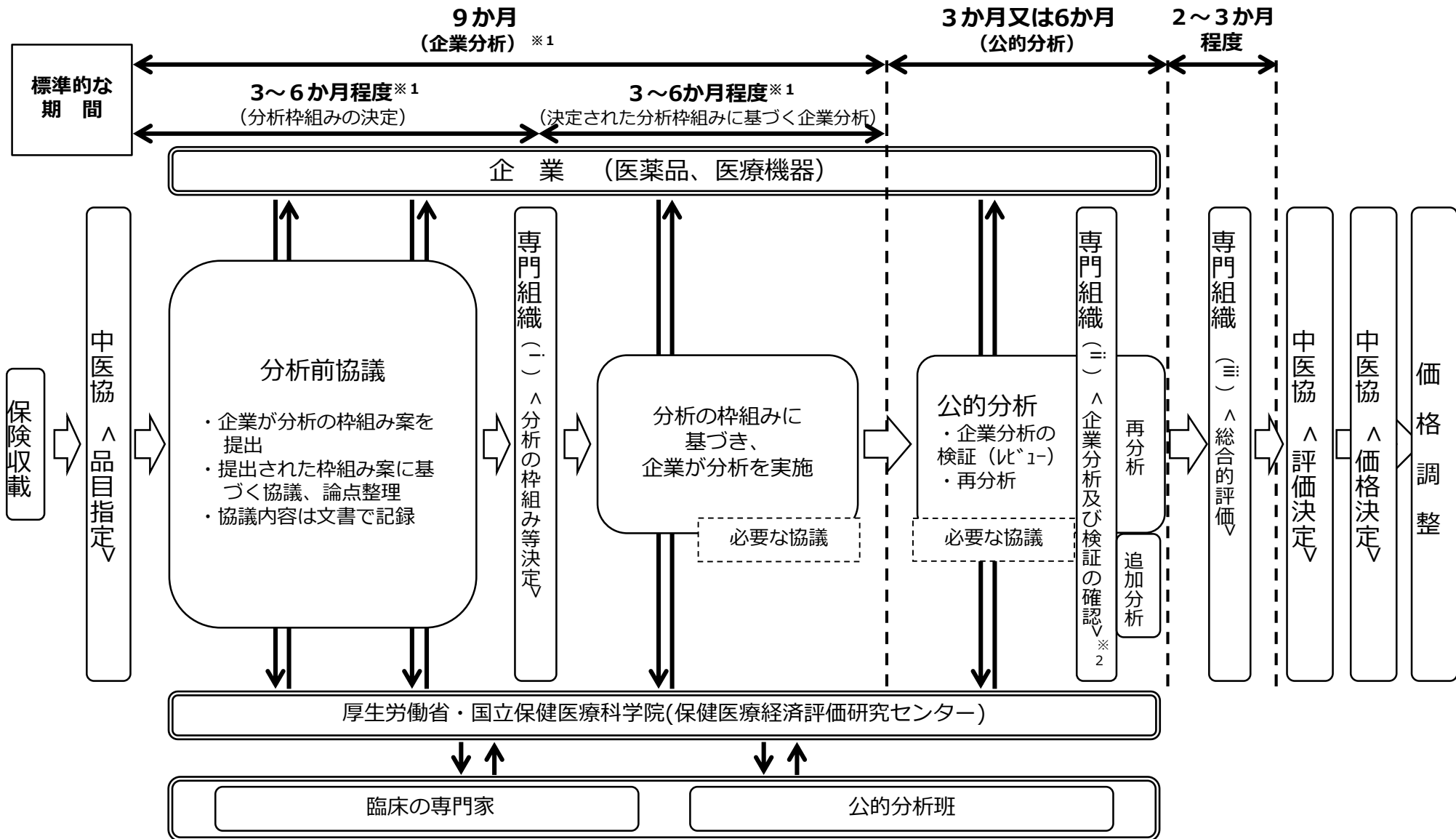
- 費用対効果評価制度の運営に当たっては、個別の品目に係る評価を着実にを行うとともに、保険収載から価格調整までの期間の短縮を求められているところ。
- また、分析プロセスについては、以下のような課題がある。
  - 専門組織（ii）の段階で、相対的な観点から企業分析の評価を行うことができないこと
  - 専門組織（iii）の段階で、追加分析を行うこととされた場合に、分析期間の延長が懸念されること
- 専門組織は、原則、毎月定例的に開催しており、資料の提出から専門組織の開催まで概ね1か月程度（最長2か月程度）の期間が必要である。
- なお、現在、企業による不服意見書の提出の機会として、専門組織（i）、（ii）及び（iii）において、それぞれ1回ずつ、合計3回設けられている。

## 論点

- 標準的な分析プロセス及び分析期間について、以下のとおり見直すこととしてはどうか。
  - 企業分析終了後、速やかに公的分析を実施する。
  - 公的分析による企業分析の検証結果が出た段階で専門組織（ii）を開催する。
  - なお、それぞれの期間は、引き続き、企業分析は9か月（270日）以内、公的分析は6か月（180日）以内（企業分析の検証のみの場合は3か月（90日）以内）とする。
  - 専門組織（ii）の開催方法の見直しにより、その時点で総合的評価が可能となる場合には、専門組織（iii）の開催方法について判断できるものとする。
  - 不服意見の機会を確保するため、企業から不服意見書が提出され、専門組織が会議の開催の必要性を認めた場合に、不服意見の聴取を行うことができることとする。



# (参考 1) 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直し後の運用 (イメージ)

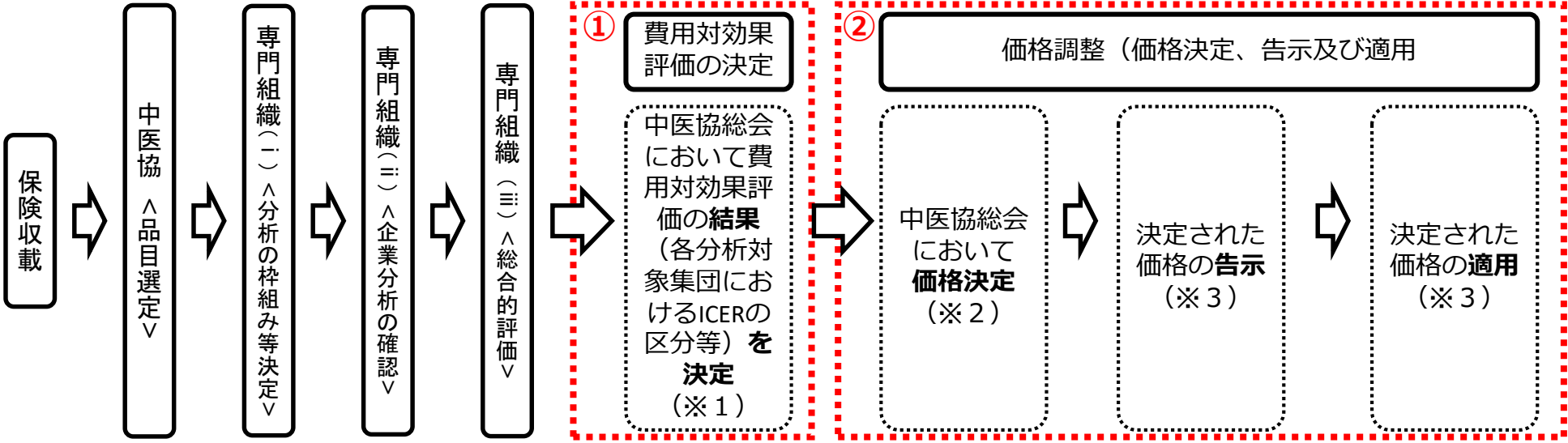


※ 1 「分析前協議」と「分析の枠組みに基づく企業分析」の合計の期間は9ヶ月を上回らないこととする。

※ 2 公的分析の結果、再分析まで実施した場合を示している。

# (参考 2) 費用対効果評価の決定及び対象品目の価格調整に係る運用 ①

- 費用対効果評価の決定及び対象品目の価格調整については、
  - ① 費用対効果評価専門組織での「費用対効果評価案」策定後速やかに、中医協総会において審議し、結果を決定する。
  - ② 対象品目の価格調整（価格決定、告示及び適用）については、価格決定を新薬保険収載及び四半期再算定と同じタイミングで審議し、告示及び適用については、四半期再算定と同様の取扱いとする。



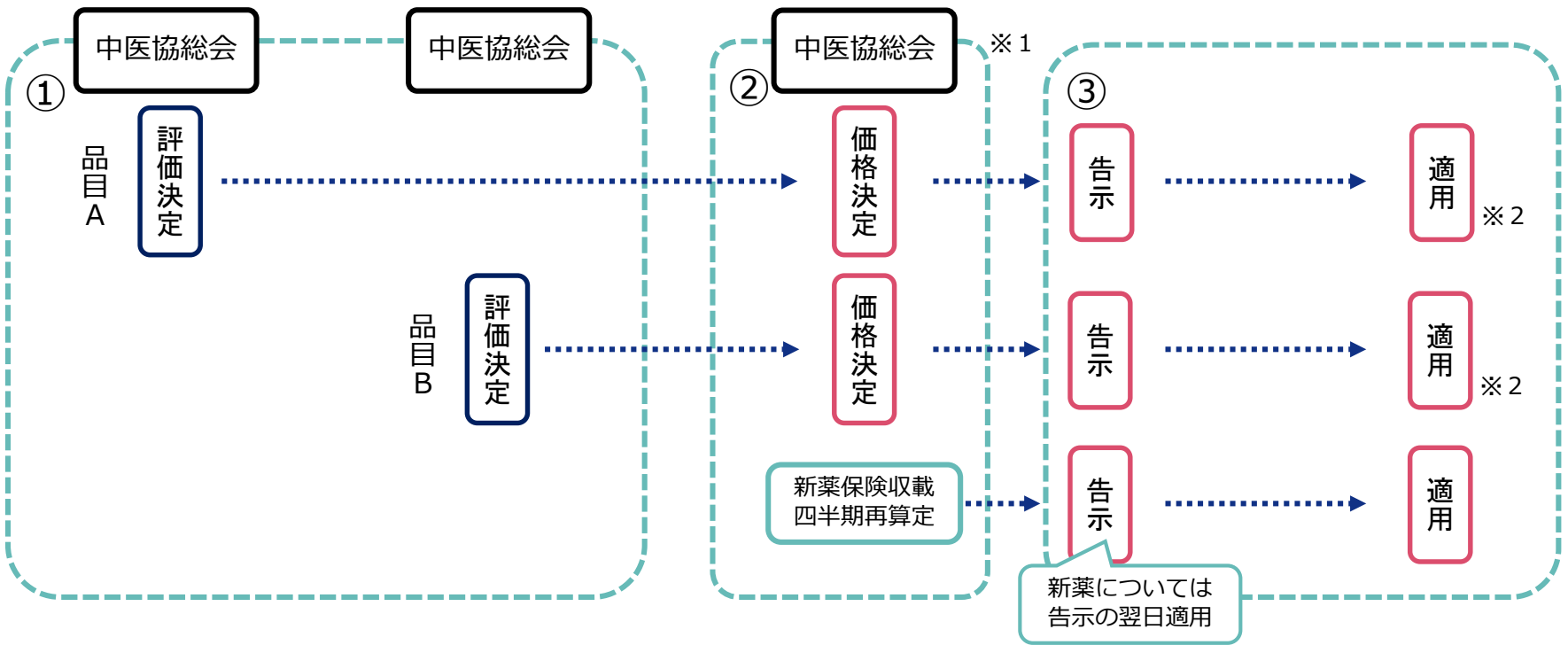
※1 決定されたICERの区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。

※2 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いたICERの区分を用いる。

※3 四半期再算定と同様の取扱いとする。

**(参考3)**  
**費用対効果評価の決定及び対象品目の価格調整に係る運用 ②**

- 費用対効果評価の結果の決定については、費用対効果評価専門組織が「費用対効果評価案」を策定した後、順次、中医協総会において議論を行う (①)。
- 価格決定については、「年4回、対象品目の価格調整を行う。」こととされていることを踏まえ、中医協総会において、新薬保険収載及び四半期再算定に係る議論と同時に行う (②)。
- 決定後の価格の告示及び適用の時期については、四半期再算定と同様に取り扱う (③)。



※1 決定されたICERの区分について、価格決定の時点における評価対象品目及び比較対照品目の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、ICERに変化があり、区分が変更される場合がある。その場合、価格決定には新たなICERの区分を用いる。

※2 決定された価格の適用の時期は、四半期再算定と同様、告示から3月後の1日付けに適用 (例：5月告示→8月1日付け適用)。

## 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

### 2 - 1. 分析プロセスの見直しについて

2 - 1 - 1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

2 - 1 - 2. 分析前協議について

2 - 1 - 3. 分析対象集団の取扱いの整理について

2 - 1 - 4. 評価終了後の再評価プロセスについて

2 - 1 - 5. 効能追加時の取扱いについて

## 分析にかかる標準的な期間の設定、分析ガイドラインのあり方

### 分析にかかる標準的な期間の設定

#### <対応>

- 費用対効果評価を適切かつ遅滞なく進めるため、各段階での標準的な期間を設定する。
  - ・企業分析 9ヶ月程度
  - （内訳）
    - ・分析前協議（分析の枠組み決定まで） 3～6ヶ月程度
    - ・枠組みに基づく企業分析 3～6ヶ月程度  
（但し、合計の期間は9ヶ月程度を上回らないこととする）
  - ・公的分析 3ヶ月程度（再分析を行う場合は6ヶ月程度）
  - ・総合的評価及び価格決定 3ヶ月程度
- 各品目の進捗状況については定期的に中医協総会に報告する。
- 費用対効果評価に係る分析の知見を有しない小規模な企業の場合など、標準的な期間での分析が困難な場合も想定されることから、標準的な期間を超えた場合はその理由を中医協総会に報告する。

### 分析ガイドラインのあり方

#### <対応>

- 費用対効果評価に関する分析は、分析ガイドラインに沿って実施する。
- 品目ごとの分析ガイドラインの解釈は、分析前協議等において具体的に協議を行う。
- また、制度化以降においても、必要に応じて適宜見直しを行う。

# 分析前協議に係る現行の規定について ①

## 通知

### 2 製造販売業者による分析

#### (1) 分析方法等に関する分析前協議

費用対効果評価を効率的に行うため、製造販売業者は分析を開始する前に、次の手続により、国立保健医療科学院と分析方法等に関する協議（以下「分析前協議」という。）を行う。

##### ① 分析前協議の実施体制

分析前協議は、原則として国立保健医療科学院と製造販売業者の2者で行うが、厚生労働省は、必要に応じて分析前協議に参加することができる。

国立保健医療科学院は、分析前協議の実施に当たり、その内容を公的分析班（公的かつ中立的な立場で専門的に費用対効果評価に係る分析を行う機関として国立保健医療科学院が指定する機関をいう。以下同じ。）と協議するものとする。

##### ② 分析前協議の実施

製造販売業者及び国立保健医療科学院は、分析方法等について協議し、分析対象集団、比較対照技術（比較対照品目を含む。）及び分析に用いる臨床試験等の基本的な方針（以下「分析枠組み」という。）の案を策定する。

また、分析前協議では決定できず、分析中に協議が必要になると想定される事項を、あらかじめ整理する。

##### ③ 関係者への照会

国立保健医療科学院は、必要に応じて、費用対効果評価専門組織の委員のうち臨床の専門家に対し、分析のために必要な事項を照会することができる。

製造販売業者は、必要に応じて、国立保健医療科学院を通じて公的分析班及び費用対効果評価専門組織の委員のうち臨床の専門家に対し、分析のために必要な事項を照会することができる。

##### ④ 分析枠組みの決定

製造販売業者及び国立保健医療科学院は、分析枠組み案、分析前協議及び照会の内容並びに分析中に協議が必要な事項を、費用対効果評価専門組織へ報告する。費用対効果評価専門組織は、4（1）に規定する手続により、分析枠組み案の科学的妥当性を確認し、分析前協議の内容等を勘案して、分析枠組みを決定する。

## 分析前協議に係る現行の規定について ②

### 医薬品・医療機器の費用対効果評価における分析前協議について（抜粋）

#### 1. 時期と内容について

医薬品・医療機器の費用対効果評価のプロセスにおける分析前協議については、製造販売業者と国立保健医療科学院との間で、原則として2回から4回まで実施することとする。

なお、協議内容については国立保健医療科学院で議事録を作成し、製造販売業者へ送付する。

##### (1) 第1回分析前協議

第1回分析前協議は、中医協総会における品目指定後、原則として2週間以内に実施するものとする。

(検討内容)

- ① 対象疾患や対象品目の概要 (適応疾患の概要や疫学的情報、現在の標準治療、対象品目の効能効果、用法用量、メカニズムなど)
- ② 主な臨床試験の概要とその結果
- ③ 諸外国の医療技術評価機関における評価概要
- ④ 提案する費用対効果評価の分析枠組み
- ⑤ その他の相談事項

##### (2) 第2回分析前協議

第2回分析前協議は、中医協における品目指定後、原則として11週間以内（第1回分析前協議終了後およそ9週間以内）に実施するものとする。両者の合意があれば関連する臨床専門家等の参加も可能とする。

##### (3) 第3回以降の分析前協議

第3回の分析前協議は、第2回分析前協議で製造販売業者と国立保健医療科学院の間で分析枠組みに関する合意が得られなかった場合に、第2回分析前協議実施後、原則として2週間程度以内に実施するものとする。両者の合意があれば関連する臨床専門家等の参加も可能とする。

第3回分析前協議で合意が得られなかった場合には、第4回の分析前協議を原則として2週間程度以内に実施するものとする。両者の合意があれば関連する臨床専門家等の参加も可能とする。

第4回分析前協議においても合意が得られなかった場合は、両者の見解が分かれた分析上の論点の整理を行い、費用対効果評価専門組織に提出することを原則とする。

#### 2. 参加者について

原則として、製造販売業者(委託業者を含む)と国立保健医療科学院とする。公的分析班は参加しないが、内容については適宜共有される。第2回目以降の分析前協議において、両者の合意があれば、関連する臨床専門家やその他専門家の参加も可能とする。ただし、参加する専門家については、当該製造販売業者との利益相反について、分析前協議時に明らかにすることとする。また、参加した専門家及びその利益相反状況については、費用対効果評価専門組織において確認する。



# 分析前協議に係るこれまでの議論について

## 業界意見陳述（令和3年8月4日）

- 初回の分析前協議から臨床専門家や医療経済専門家が同席することで、より臨床的・科学的に妥当な分析の枠組みに向けた協議が可能になる。
- 2回目の分析前協議で合意に至った場合には3か月で終了するが、分析的枠組みについて、もし合意に至らない場合には、4か月かかってしまうということもあり得る。その場合、企業分析の期間を圧迫しないようにしてほしい。
- 分析前協議における企業秘密が守られた上での詳細な議事録の公開を通じた透明性の確保を提案する。

## 費用対効果評価専門部会（令和3年8月4日）

- 企業側と国立保健医療科学院との分析前協議において、お互いに標準的な期間をできるだけ遵守できるような改善を進めてほしい。
- 分析前協議で相互の共通理解が深まらないまま、企業分析に入ってしまうと、分析の精度に影響を及ぼす懸念があるのではないかと。

## 科学院意見（令和3年8月4日）

- どうしても見解が一致しない場合に、遅くとも第4回の分析前協議のときには、企業の見解と公的分析の見解はどこが違うのかというところ（論点）を明確にした上で、専門組織にお諮りして、双方の見解を聞いていただいた上で、専門組織で判断いただくこととなる。最終的に専門組織での判断に基づき分析を実施しているが、見解の差をどう解消していくかは課題である。
- 臨床の専門家の参画については、原則的には、費用対効果評価専門組織で行われるものと認識しているが、企業からの要望により分析前協議の段階で臨床の専門家が参加した事例はある。



# 分析前協議の見直しに係る論点

## 現状・課題

- 費用対効果評価を効率的に行うため、企業と公的分析により、分析前協議を実施することとされている。
- 分析前協議は、現在、以下のような運用がなされている。
  - 最低2回、最大4回開催される。なお、1回目は品目の指定から2週以内、2回目は1回目から9週以内、3回目は2回目から2週以内、4回目は3回目から2週以内に開催することとされている。
  - 4回の協議を経た後、分析枠組みが定まらない場合には、双方の相違点（論点）を整理した上で、費用対効果評価専門組織において分析枠組みを決定する。
  - 2回目の分析前協議から、企業及び公的分析の合意が得られた場合には、臨床の専門家等の参加が可能とされている。
- なお、分析枠組みを決定する専門組織（i）について、開催する日程等に係る規定はない。
- 企業からは、1回目の分析前協議から臨床の専門家等の参加を可能とすること及び検討プロセスの透明化のために議事録を公開すること等の要望がある。

## 論点

- 費用対効果評価を効率的に実施する観点から、できるだけ早期に企業と公的分析が分析前協議を開始できるようにし、原則として、品目の指定から3月後に開催される費用対効果評価専門組織（困難な場合には、その翌月に開催される費用対効果評価専門組織）に、当該品目に係る分析枠組み案を提出することとしてはどうか。
- 分析枠組みに係る協議を迅速かつ適切に実施する観点から、1回目の分析前協議から、企業及び公的分析側の合意が得られた場合には、臨床の専門家等の参加を可能とすることとしてはどうか。

## 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

### 2 - 1. 分析プロセスの見直しについて

2 - 1 - 1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

2 - 1 - 2. 分析前協議について

2 - 1 - 3. 分析対象集団の取扱いの整理について

2 - 1 - 4. 評価終了後の再評価プロセスについて

2 - 1 - 5. 効能追加時の取扱いについて

## 分析にかかる標準的な期間の設定、分析ガイドラインのあり方

### 分析にかかる標準的な期間の設定

#### <対応>

- 費用対効果評価を適切かつ遅滞なく進めるため、各段階での標準的な期間を設定する。
  - ・企業分析 9ヶ月程度
  - （内訳）
    - ・分析前協議（分析の枠組み決定まで） 3～6ヶ月程度
    - ・枠組みに基づく企業分析 3～6ヶ月程度  
（但し、合計の期間は9ヶ月程度を上回らないこととする）
  - ・公的分析 3ヶ月程度（再分析を行う場合は6ヶ月程度）
  - ・総合的評価及び価格決定 3ヶ月程度
- 各品目の進捗状況については定期的に中医協総会に報告する。
- 費用対効果評価に係る分析の知見を有しない小規模な企業の場合など、標準的な期間での分析が困難な場合も想定されることから、標準的な期間を超えた場合はその理由を中医協総会に報告する。

### 分析ガイドラインのあり方

#### <対応>

- 費用対効果評価に関する分析は、分析ガイドラインに沿って実施する。
- 品目ごとの分析ガイドラインの解釈は、分析前協議等において具体的に協議を行う。
- また、制度化以降においても、必要に応じて適宜見直しを行う。

# テリルジーの費用対効果評価について

・ 対象品目名：テリルジー100エリプタ14吸入用、同30吸入用（フルチカゾンフ  
ランカルボン酸エステル・ ウメクリジニウム臭化物・ ビランテロールトリフェニ  
ル酢酸塩）

・ 製造販売業者名：グラクソ・スミスクライン株式会社

・ 効能又は効果：

A. 気管支喘息

B. 慢性閉塞性肺疾患（慢性気管支炎・肺気腫）の諸症状の緩解

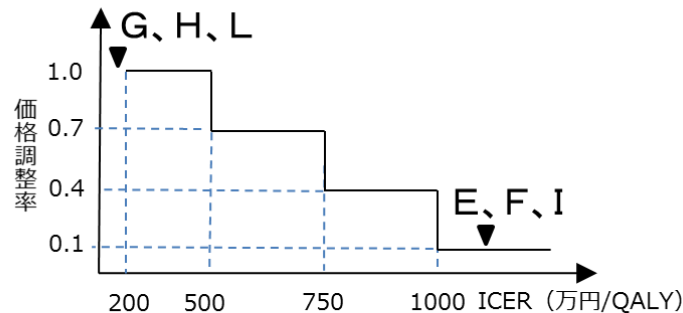
※ 上記Aの効能又は効果は、令和2年11月27日に追加されたものであり、上記Bに対する  
企業分析の終了後であるため分析の対象とはならない。

## 【費用対効果評価結果について】

対象集 団	前治療	前治療詳細	好酸球数	比較対照技術	ICER (円/QALY)	患者割合 (%) *
A	3剤併用	MITT※1（2製剤吸入 における3剤併用）	100/μL未満	MITT※1（2製剤吸入にお ける3剤併用）	費用削減※5	4.5
B			100/μL以上		費用削減※5	14.0
C	3剤併用	MITT（2製剤吸入にお ける3剤併用）	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	分析不能※6	0
D			100/μL以上		分析不能※6	0
E	3剤併用	MITT（2製剤吸入にお ける3剤併用）	100/μL未満	LAMA※4/LABA※3	費用増加※7	0.1
F			100/μL以上		費用増加※7	0.2
G	2剤併用	ICS※2/LABA※3	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	200万円/QALY未満	14.0
H			100/μL以上		200万円/QALY未満	40.2
I	前治療： 2剤併用（LAMA※4/LABA） もしくは 前治療単剤（LAMA）		100/μL未満	LAMA※4/LABA※3	費用増加※7	6.5
J			100/μL以上		Dominant※8	19.7
K	単剤	LAMA	100/μL未満	ICS※2/LABA※3	Dominant※8	0.2
L			100/μL以上		200万円/QALY未満	0.7

- \* NDBに基づく患者割合  
 ※1 MITT（複数回吸入による）3剤併用療法  
 （LAMA/LABA/ICS）  
 ※2 ICS 吸入ステロイド薬  
 ※3 LABA 長時間作用型β2刺激薬  
 ※4 LAMA 長時間作用性抗コリン薬  
 ※5 効果が同等で費用が削減されるもの  
 ※6 データが存在しない  
 ※7 効果が同等で費用が増加するもの  
 ※8 効果が高く、費用が削減されるもの

有用性系加算等の価格調整率



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\ &= \text{価格調整前の有用性系加算等} \\ & \quad - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

ICERが算出不可能なもの

- A、B：費用削減（価格調整率1.0）  
 C、D：分析不能（価格調整から除外）  
 J、K：Dominant（価格調整率1.0）

中医協総会（令和3年3月24日）

- 費用対効果評価が極端なものを、加重平均で（価格を）決めるということが妥当なのか。
- 対象集団によっては正反対の結果になっていることについて理由も含めて説明すべき。

# 分析対象集団の設定に係る専門組織からの意見について

## 費用対効果評価専門組織意見書

(8) 分析対象集団の規模が小さくなる場合の取扱いについて

### 【現状及び課題】

- 現行の制度においては、分析対象集団の設定に当たり、集団の規模が小さくなる場合の取扱いについては、明確に規定がない。

#### 現行の規定

- ・ 複数の適応がある場合、あるいは同一疾患内においても治療成績や使用方法・用法用量、比較対照技術が異なる主要な集団がある場合は、各集団についてそれぞれ分析を実施することを原則とすること。
- ・ ただし、上記を実施することが困難な場合は、患者数や疾患の性質等を勘案して、集団を選択すること。

- これまでの事例においても、「テリルジー」では、12の分析対象集団が設定される等集団が細分化された事例が見られた。
- 分析対象集団を細分化することには、以下の様な課題がある。
  - ・ 各集団の規模が小さくなり、分析上の不確実性が高くなることによって、結果の解釈が困難となる可能性があること
  - ・ 臨床実態を踏まえると分析する価値のない集団となる可能性があること
  - ・ 分析に要する時間が長くなる可能性があること 等

### 【対応案】

- 分析上の確実性等を担保するため、集団の規模が小さくなる場合についても、現行の規定の「実施することが困難な場合」にあたるものとして、明確化してはどうか。

# 分析対象集団の設定に係るこれまでの議論について

## 費用対効果評価専門部会（令和3年7月21日）

- 集団が細分化された事例について、課題として、臨床実態を踏まえると、分析する価値のない集団となる可能性がある指摘されている。費用対効果評価について、臨床の実態と乖離したものになっては意味がないため、あくまでも実態を踏まえた分析をするということについて、十分に留意していただきたい。
- 分析対象集団の規模については、なるべく小さくならないような努力をしていただいた上で、それでも難しいということであれば、正確なデータが得られない可能性もあるため、除外するという点については、納得性のある説明をしていただきたい。

## 業界意見陳述（令和3年8月4日）

- 分析の枠組みの決定に際しては、企業と国立保健医療科学院が十分な協議を行って、臨床的・科学的に妥当な分析の枠組み決定に向けたより有益な運用を検討することが重要。
- 臨床的意義を持たない多くの部分集団について解析を行い、結果としてデータ数が少なくなることでデータの信頼性が低下して、意味を持たない分析結果となることは問題。
- 臨床専門家や医療経済専門家を初回の分析前協議からの同席することで、より臨床的・科学的に妥当な分析の枠組みに向けた協議が可能になる。

## データが不足している場合等の対応

### <対応>

- データが不足している等の理由で、「分析不能」であることが確認された品目については、専門組織での協議を経た上で、中医協総会において分析・評価を中断することができる。
- 分析・評価が中断された場合、中医協総会は専門組織での検討を踏まえ、品目毎に期間を設定し、企業側に必要なデータの集積及び提出を求める。その上で、必要なデータが得られない場合は、専門組織及び中医協総会での協議を踏まえ、最も費用対効果評価が悪いものとみなして価格調整を行う。
- 分析の途中に当該品目が販売停止もしくは当初予定していた市場が大幅に縮小した場合等は、専門組織での協議を経たうえで、中医協総会において分析・評価を中止することができる。
- 企業が分析不能とした品目のうち、公的分析班及び専門組織で分析可能と判断された品目については、公的分析の結果を用いて価格調整を行う。
- 分析が中断又は中止とされた事例を集積した上で、今後の仕組みの参考にする。

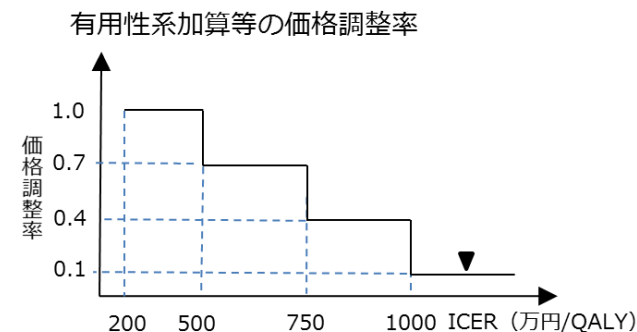
# トリンテリックスの費用対効果評価について

- 対象品目名：トリンテリックス錠10mg・同20mg(ボルチオキセチン臭化水素酸塩)
- 製造販売業者名：武田薬品工業株式会社
- 効能又は効果：うつ病・うつ状態

## 【費用対効果評価結果について】

対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
中等度以上のうつ病・うつ状態	ミルナシプラン	費用増加	100

\* 分析枠組みで設定された「軽度のうつ病・うつ状態の患者」については、本品目の費用対効果評価から除外することが妥当と費用対効果評価専門組織において判断した。



$$\begin{aligned} & \text{価格調整後の有用性系加算等} \\ = & \text{価格調整前の有用性系加算等} \\ & - \text{有用性系加算等} \times (1 - \text{価格調整率}) \end{aligned}$$

## 中医協総会（令和3年5月26日）

- 今後、分析不能とされた分析対象集団が、より多くの割合を占める場合など、より複雑なケースや、判断に苦慮するケースが出てくることも考えられる。費用対効果評価専門部会において検討の上、今後の運用について、今後の運用について整理すべきではないか。
- 一定程度実績を積み重ねていく中で、ある程度のルールを作っていくことは必要。分析不能とされた場合の取扱いについては、あらかじめルールとして設定しておく必要があるのではないか。



# 分析不能の場合の取扱いに係る専門組織からの意見について ①

## 費用対効果評価専門組織意見書

(4) 分析対象集団の一部が分析不能とされた場合の取扱いについて

【現状及び課題】

- 現行の制度では、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。）とされた場合の取扱いについて規定されているが、この規定は品目全体について「分析不能」となった場合の取扱いであり、一部の分析対象集団についてのみ「分析不能」となった場合の取扱いに関する規定はない。

### 現行の規定

- ・ 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こと
- ・ 対象品目が販売を停止した場合や年間販売額が大幅に減少した場合等であって、製造販売業者及び国立保健医療科学院が合意した場合には、対象品目の評価中止を申し出ることができること
- ・ 費用対効果評価専門組織は、上記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、分析中断又は評価中止の可否を専門的見地から審議（※）し、中央社会保険医療協議会総会に報告すること  
（※分析中断又は評価中止とする科学的妥当性、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等）
- ・ 分析中断とされた品目について、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こと
- ・ 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、評価中止の可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こと
- ・ 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こと

- 「トリンテリックス」では、分析データの不足により一部の分析集団が「分析不能」とされたが、当該集団の臨床上の意義や患者割合、追加情報の確保の見込み等を踏まえ、当該集団を除外した上で品目全体の評価とする旨の対応が行われた。

## 分析不能の場合の取扱いに係る専門組織からの意見について ②

### 費用対効果評価専門組織意見書

(4) 分析対象集団の一部が分析不能とされた場合の取扱いについて

【対応案】

- 分析対象集団の一部が分析不能とされた場合の取扱いについて、企業の予見性を確保する観点では、予め定量的なルールを定め運用を行うことが望まれるが、一方で当該集団の持つ臨床的意義や医療経済学的意義等は事例ごとに異なると考えられ、現時点において一律のルールを定めることは困難である。
- 分析対象集団の一部が分析不能とされた場合の取扱いについては、引き続き個別の事例への対応を行いながら事例を収集しつつ、検討することとしてはどうか。

# 分析不能の場合の取扱いに係るこれまでの議論について

## 費用対効果評価専門部会（令和3年7月21日）

- 分析不能集団の取扱いについては、継続課題としつつ、まずは個別の事例を積み重ねて、改めてルール化を検討していくべき。

## 業界意見陳述（令和3年8月4日）

- 製品に関する重要な臨床試験データが使えないため分析不能となるケースなど、そもそもの分析対象集団の分け方を改善することも必要。
- 分析対象集団の一部又は全体について分析不能とされたことをもって、全体の評価に不利な影響を及ぼすことがないよう配慮が必要。

# 分析対象集団の取扱いに係る論点

## 現状・課題

(分析対象集団の設定について)

- 現行の制度においては、分析対象集団の設定に当たり、集団の規模が小さくなる場合の取扱いについては、明確に規定がないため、専門組織において個別に判断している。
- 分析対象集団を細分化することには、以下の様な課題がある。
  - 各集団の規模が小さくなり、分析上の不確実性が高くなることによって、結果の解釈が困難となる可能性があること
  - 臨床実態を踏まえると分析する価値のない集団となる可能性があること
  - 分析に要する時間が長くなる可能性があること 等
- 中医協において、あくまでも臨床実態を踏まえた分析をするという観点から、十分に留意するべきとの意見があった。

(分析不能とされた集団の取扱いについて)

- 現行の制度では、一部の分析対象集団についてのみ「分析不能」となった場合の取扱いに関する規定はない。
- 中医協において、分析不能集団の取扱いについては、継続課題としつつ、まずは個別の事例を積み重ねて、改めてルール化を検討していくべきとの意見があった。

## 論点

- 分析対象集団の規模が小さくなる場合については、患者数や疾患の性質等を勘案しつつ、全体の評価への影響の程度について専門家の意見も伺いながら、その理由を明らかにした上で分析対象集団の一部を分析対象から除外できることとしてはどうか。
- 分析対象集団の一部が分析不能となった場合の取扱いについては、引き続き、個別の事例ごとの検討を行いながら事例を収集しつつ、必要に応じて検討することとしてはどうか。

## 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

### 2 - 1. 分析プロセスの見直しについて

2 - 1 - 1. 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

2 - 1 - 2. 分析前協議について

2 - 1 - 3. 分析対象集団の取扱いの整理について

2 - 1 - 4. 評価終了後の再評価プロセスについて

2 - 1 - 5. 効能追加時の取扱いについて

## 費用対効果評価の対象品目の選定基準

### <対応>

- 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% 未滿	・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100億円未滿
	H3			・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1000億円以上の品目 ・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) 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

## 品目選定のタイミング、公表の手続き

### <対応>

- 費用対効果評価の対象となる品目については、速やかに選定を行う。
- 分析・評価を円滑に進めるため、同時に多くの品目を選定するのではなく、時期を分散して選定する。
- 新規収載品（H1～H3区分）及び類似品目（H5区分）については、薬価算定組織等において基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承を行う。
- 既収載品（H4区分）については、薬価算定組織等の意見を聞いたうえで、厚労省において基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承を行う。

（表）品目選定のタイミング、公表の手続き

区分	品目選定のタイミング	公表	選定後の対応
H1	年4回（保険収載を機に選定）	選定時に 中医協総会 において、 公表する。	選定後、速やかに費用対効果評価の分析を開始。
H2	年4回 （保険収載を機に「評価候補 品目」として選定）		「評価候補品目」として位置づける。 H1、H3及びH4区分の選定状況を踏まえ、年間の評価可能品目数の上限を目安に、医薬品及び医療機器について、ピーク時市場規模（予測）の高いものから順に費用対効果評価の対象として選定（年2回）し、分析を開始。
H3	年4回（保険収載を機に選定）		選定後、速やかに費用対効果評価の分析を開始。
H4	年4回 （新規収載の機会を活用し選定）		選定後、速やかに費用対効果評価の分析を開始。
H5	年4回（保険収載を機に選定）		費用対効果評価の分析は行わず、代表品目に準じた価格調整を行う。

# 評価終了後の再評価のプロセスに係る専門組織からの意見について

## 費用対効果評価専門組織意見書

### (7) 評価終了後の再評価のプロセスについて

#### 【現状及び課題】

- 現行の制度においては、H3区分の「費用対効果評価終了後に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（H1区分又はH2区分に該当するものを除く。）」との規定があるが、国立保健医療科学院における知見の確保やその後の指定プロセスについて、その具体的な運用は定められていない。
- これまでの事例では、「コララン」について「当該品目に対する費用対効果評価に当たっては、引き続き投与量に関する情報収集を行うことが必要である」との報告が専門組織からなされ、「テリルジー」について、費用対効果評価の対象となった適応症であるCOPDの他、その後に効能追加された喘息についても、新たな知見が得られた際の対応について検討のプロセスを明確にすべきとの指摘が中医協総会においてもなされたところ。

#### 【対応案】

- H3区分の妥当性に係る国立保健医療科学院における知見の確保については、当面、海外評価機関での評価結果や医学誌のレビュー等を行うこととし、こうした知見の確保に関する規定については、費用対効果評価に係る体制強化やデータの提供等における企業の協力なども必要であることから引き続き検討することとしてはどうか。
- 国立保健医療科学院において重要な知見が得られた場合のH3区分の指定プロセスについては、まずは、専門組織での検討を行い、中医協総会で指定が妥当とされた場合に、対象品目として指定することとしてはどうか。



## 評価終了後の再評価プロセスに係るこれまでの議論について

### 費用対効果評価専門部会（令和3年7月21日）

- 希少疾病等の効能で承認を取得した後、対象疾患の多い効能を追加するという場合も見受けられる。こうしたケースについては、企業にピーク時の予想患者数や予想販売金額を報告させるなどして、より迅速な対応ができるような方法についても検討できないか。

### 業界意見陳述（令和3年8月4日）

- 専門組織から再評価の必要性を指定される場合以外に、企業が新たに研究を実施して知見が得られる場合も想定されることから、企業の申請に基づく再評価も認めてほしい。

# 評価終了後の再評価プロセスに係る論点

## 現状・課題

- 現行の制度においては、H3区分に評価終了後の品目についての規定があるが、国立保健医療科学院における知見の確保やその後の指定プロセスについて、その具体的な運用は定められていない。
- 効能を追加する場合については、企業にピーク時の予想患者数や予想販売金額を報告させるなどして、より迅速な対応ができるようにしてはどうかという意見がある。
- 企業からは、専門組織から再評価の必要性を指定される場合以外に、企業の申請に基づく再評価も認めてほしいという意見がある。



## 論点

- 評価終了後の再評価に当たっては、以下のプロセスにより、H3区分への該当性を判断することとしてはどうか。
  - 国立保健医療科学院において、海外評価機関での評価結果や、医学誌のレビュー等を踏まえつつ、候補となる品目を選定する。
  - 選定された品目について、専門組織において、基準に該当するか否かの案を作成し、中医協総会において了承を行う。
- なお、H3区分への該当性の判断に係る基準をより具体的にする観点から、海外事例の収集等を含め、研究を進めることとしてはどうか。

## 分析プロセス及び価格調整方法の在り方

### 2 - 1 . 分析プロセスの見直しについて

2 - 1 - 1 . 標準的な分析プロセス及び分析期間の見直しについて

2 - 1 - 2 . 分析前協議について

2 - 1 - 3 . 分析対象集団の取扱いの整理について

2 - 1 - 4 . 評価終了後の再評価プロセスについて

2 - 1 - 5 . 効能追加時の取扱いについて

# 効能追加時の取扱いについて

## 【現行ルール】

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第2版（抜粋）

### 3 分析対象集団

3. 1 製造販売業者による分析実施時点において、評価対象技術の適応となる患者を分析対象集団とする。

3. 1. 1 品目の指定から製造販売業者による分析結果の提出時までの間に適応が追加される(あるいは用法用量が追加される)場合は、それらの適応(や用法用量)についても原則として分析対象に含める。

3. 2 複数の適応がある場合、あるいは同一疾患内においても治療成績や使用方法・用法用量、比較対照技術が異なる主要な集団がある場合は、各集団についてそれぞれ分析を実施することを原則とする。

3. 2. 1 ただし、「3. 2」を実施することが困難な場合は、患者数や疾患の性質等を勘案して、協議における両者(製造販売業者と国立保健医療科学院/公的分析班: 以下同様)の合意のもとで集団を選択することとする。

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）

### 2 製造販売業者による分析

#### (2) 製造販売業者による分析

##### ③ 分析データ等の提出

製造販売業者は、中央社会保険医療協議会総会において対象品目が指定された日から、分析方法、条件及びICER（対象品目の増分費用効果比をいう。以下同じ。）を含む分析結果のデータ（以下「分析データ等」という。）を、原則として9か月以内に費用対効果評価専門組織に提出しなければならない。

製造販売業者は、提出期限までに分析データ等を提出することができなかつた場合には、分析データ等を提出する際に、その理由を付さなければならない。費用対効果評価専門組織は、当該理由の妥当性を検証し、当該検証結果を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

### 3 公的分析

#### (3) 公的分析結果の提出期限

国立保健医療科学院は、4（2）に規定する費用対効果評価専門組織の審議が終了した日から原則として3か月以内（公的分析班 が再分析を行う場合にあつては、6か月以内）に費用対効果評価専門組織に公的分析結果（レビュー及び再分析の結果をいう。以下同じ。）を提出しなければならない。

国立保健医療科学院は、提出期限までに分析データ等を提出することができなかつた場合には、分析データ等を提出する際に、その理由を付さなければならない。費用対効果評価専門組織は、当該理由の妥当性を検証し、当該検証結果を中央社会保険医療協議会総会に報告する。

## 効能追加の事例について（令和3年8月4日時点）

No.	総会指定	品目名	効能・効果	記載時価格※1	うち有用性系加算率	市場規模（ピーク時予測）	費用対効果評価区分	総会での指定日	現状
1	7	ノクサフィル※3 (MSD)	深在性真菌症	3,109.10円（100mg錠）	なし	112億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/4/8	公的分析中
2	8	カボメティクス (武田薬品工業)	腎細胞癌、 肝細胞癌※5	8,007.60円（20mg錠） 22,333.00円（60mg錠）	10%	127億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/5/13	公的分析中※5
3	9	エンハーツ (第一三共)	乳癌、胃癌※4	165,074円	5%	129億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/5/13	公的分析中※4
4	10	ゾルゲンスマ (バルティスファーマ)	脊髄性筋萎縮症	167,077,222円	50%	42億円	H3（単価が高い）	2020/5/13	公的分析中
5	13	リベルサス (ノバルティスファーマ)	2型糖尿病	143.20円（3mg錠） 334.20円（7mg錠） 501.30円（14mg錠）	5%	116億円	H1（市場規模が100億円以上）	2020/11/11	企業分析中
6	15	エムガルディ (日本イライリ)	片頭痛	45,165円（120mg 1mL 1キット） 44,940円（120mg 1mL 1筒）	なし	173億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/4/14	分析前協議中
7	17	ポライビー (中外製薬)	リンパ腫	298,825円（30mg） 1,364,330円（140mg）	5%	120億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
8	18	ダラキューロ (ヤンセンファーマ)	多発性骨髄腫	432,209円	5%	370億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
9	19	アリケイス (インスト)	肺非結核性抗酸菌症	42,408.40円	10%×0.2※2 (2%)	177億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/5/12	分析前協議中
10	22	アジヨビ (大塚製薬)	片頭痛	41,356円（225mg 1.5mL 1筒）	なし	137億円	H5（エムガルディの類似品目）	2021/8/4	分析は行わない（エムガルディの評価に準じる）
11	23	アイモビーグ (アムジエン)	片頭痛	41,356円（70mg 1mL 1キット）	なし	153億円	H5（エムガルディの類似品目）	2021/8/4	分析は行わない（エムガルディの評価に準じる）
12	24	レベスティブ (武田薬品工業)	短腸症候群	79,302円（3.8mg 1瓶）	5%	60億円	H2（市場規模が50億円以上）	2021/8/4	-
13	25	ベクルリー (ギリアド・サインズ)	SARS-CoV-2による 感染症	63,342円（100mg 1瓶）	なし	181億円	H1（市場規模が100億円以上）	2021/8/4	-

※1 記載時価格は、キット特徴部分の原材料費除いた金額。

※2 加算係数（製品総原価の開示度に応じた加算率）・・・開示度80%以上：1.0、50～80%：0.6、50%未満：0.2

※3 ノクサフィルは内田薬（ノクサフィル錠100mg）のみが費用対効果評価対象。

※4 胃癌については令和2年9月25日に効能追加され、公的分析中。

※5 肝細胞癌については令和2年11月27日に効能追加され、企業分析中。

# 効能追加に係る専門組織からの意見について

## 費用対効果評価専門組織意見書

### (6) 効能追加時の取扱いについて

#### 【現状及び課題】

- 現行の制度においては、効能が追加された場合の対応について、品目の指定から企業分析の提出時までの間の効能追加であれば、原則として追加された効能についても分析を行うこととなっているが、その際の分析期間の取扱いや総合的評価の方法についての規定がない。このため、効能追加に係る分析を行った結果、「当初の効能」に関する企業分析期間（品目指定から9か月）を超過した場合、その超過に係る妥当性を専門組織で検証し、中医協に報告することとなる。  
※ なお、その超過に係る妥当性が認められなかった場合の取扱いに係る意見を（5）に示す。
- これまでの事例においても、「エンハーツ」及び「カボメティクス」で効能追加がなされている。
- なお、これまでに事例はないが、複数回の効能追加がなされた場合の対応についても、その取扱いが明確ではない。

#### 【対応案】

- 効能追加に係る分析期間の延長について、「当初の効能」に係る分析期間中に一定の準備が可能であることを踏まえ、妥当と考えられる期間を設定することとしてはどうか。  
（参考：「当初の効能」に係る企業分析期間は9か月と定められている。）
- 総合的評価については、「当初の効能」と「追加された効能」を併せた評価を行うこととしてはどうか。
- 複数の効能追加がなされた場合については、「当初の効能」に係る企業分析期間（品目の指定から9か月）内の効能追加についてのみ分析の対象とすることとしてはどうか（それを超えて効能追加がなされた場合、2つ目以降の効能に係る分析期間中であっても、分析の対象としない。この場合、H3区分の規定に基づき、評価終了後に改めて品目の指定の可否を検討することとしてはどうか。）。

## 効能追加に係るこれまでの議論について

### 費用対効果評価専門部会（令和3年7月21日）

- 効能追加の取扱いについては、指定から9か月以内、すなわち企業分析中であれば、最小限の期間延長で追加の分析を行い、9か月を超えた場合については、一旦締めて評価を行って、改めてH3を適用するという考え方があるのではないか。また、効能追加のたびにH3をその都度適用するのか、それとも一定規模以上の患者集団が認められた場合にそれを議論するのかについては、今後検討していく必要があるのではないか。

### 費用対効果評価専門部会（令和3年8月4日）

- 分析結果を速やかに薬価に反映させるという基本的スタンスを踏まえると、費用対効果評価分析中に効能追加が行われ、新たな分析が必要となって遅くなるということは、望ましくない。効能追加も大きなものから小さなものまでいろいろあり、分析にさらに9か月が必要ということであれば、分析期間中の効能追加について、一旦対象に含めないというのも選択肢の一つではないか。

### 企業意見陳述（令和3年8月4日）

- 効能追加であっても、当初の効能と別に新たに費用対効果評価を実施することになるため、当初の効能と同様の時間や労力等を要する。これを踏まえれば、効能追加から企業分析の提出までの期間は、当初の効能と同様に、少なくとも9か月は必要。
- 企業分析期間を超えて効能追加がなされた場合の品目の指定の在り方については、個別品目の状況等を踏まえ、慎重に検討されるべき。
- 当初の効能について薬価が算定され、その結果ついた加算に対して費用対効果評価が行われることから、当初の薬価算定の際に考慮されていない効能追加は、費用対効果評価の対象外であると考えている。
- 効能追加が行われた結果、その薬剤に関する主たる効能が変化とされた場合など、製品の評価に大きく影響される場合のみに限定されるべき。
- 効能追加の分析期間について、最低6か月の期間は確保されるべき。

# 効能追加時の取扱いに係る論点

## 現状・課題

- 現行の制度においては、効能が追加された場合の対応について、品目の指定から企業分析の提出時までの間の効能追加であれば、原則として追加された効能についても分析を行うこととなっているが、その際の分析期間の取扱いや総合的評価の方法についての規定がない。



## 論点

- 費用対効果評価の対象となった品目について効能追加がなされた場合には、以下の取扱いとすることとしてはどうか。
  - 分析枠組みの決定前に効能追加がなされた場合には、原則として、追加された効能を含めて分析枠組みを決定することとしてはどうか。
  - 追加された効能を含めて分析枠組みを決定することにより、分析全体が大幅に遅延することが想定される場合には、当該効能を含めずに分析を進めることとした上で、費用対効果評価案の決定後に、改めて、H3区分への該当性について、検証することとしてはどうか。