

医薬品等の費用対効果評価制度における検証のための会議 議論のとりまとめ

厚生労働科学研究

「医薬品・医療機器等の費用対効果評価制度における公的分析の体制、
分析ガイドラインの改定及び客観的検証のための研究」

「医薬品等の費用対効果評価制度における検証のための会議 議論のとりまとめ」の概要

令和8年度費用対効果評価制度改革の骨子において、半年程度の技術的な議論を行うこととされたことを踏まえ、厚生労働科学研究班において検討を実施した。これまでの制度の運用実績を踏まえ、制度運用上の課題について主に3つの論点に整理して議論した。

① 比較技術に対する健康アウトカム指標での改善の評価における科学的根拠について

基本的な考え方

- ・『健康アウトカムの改善』は、健康アウトカムに基づき、学術的妥当性及び国際的標準との整合性を確保して評価する。

主な意見

- ・必要に応じて「『健康アウトカムの改善』が示されていない」と判断した場合の理由やその根拠を適切に提示する。

② I C E Rの不確実性への考慮について

基本的な考え方

- ・I C E Rの不確実性については、構造的な不確実性を含め、分析結果の頑健性を確認した上で評価する。

主な意見

- ・基本分析におけるI C E Rの点推定値を用いること等について留意が必要である。

③ 比較対照技術の臨床的妥当性について

基本的な考え方

- ・比較対照技術については、分析ガイドラインに基づき、治療効果がより高いものを選定する。

主な意見

- ・複数の治療が存在する場合、比較対照技術を一つに定めることについて臨床実態との関係が問われ得ることや、選定理由が十分伝わりにくい場合があることに留意が必要である。

○いずれにおいても、費用対効果評価専門組織の決定は、各論点について企業分析と公的分析の内容を踏まえ、より確からしい分析方法の選択によって行われており、一定の妥当性はあるとされつつも、議論の透明性やプロセスについては、一部改善の余地があると考えられた。これらを踏まえて、さらに議論の透明性を改善する観点から、以下について今後検討が必要と思われる。

- ・製造販売業者の専門組織への出席機会を増やすこと
- ・製造販売業者と公的分析を実施する国立保健医療科学院の協議機会を増やすこと
- ・新規の重要な知見が得られた際における要望の仕組みの活用を推進すること

○他の論点についても、引き続き将来的な費用対効果評価制度改革に係る議論の中で検討されることが望まれる。

「医薬品等の費用対効果評価制度における検証のための会議 議論のとりまとめ」の議論の経過

令和8年度費用対効果評価制度改革の骨子において、関係業界からの意見等を踏まえ、半年程度の技術的な議論を行うこととされたことを踏まえ、「医薬品・医療機器等の費用対効果評価制度における公的分析の体制、分析ガイドラインの改定及び客観的検証のための研究」（研究代表者：福田敬、国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター センター長。以下「研究班」という。）において、医療経済学者、医療統計家、診療専門家、製造販売業者、公的分析（国立保健医療科学院及び公的分析班）の代表者による検討を実施した。

検証に当たっては、製造販売業者及び公的分析の双方から、各論点の概要及び個別品目に関する説明を受けるとともに、評価結果が導かれた背景や分析手法の妥当性について議論を行うこととした。また、今後の制度運用や制度改革に資する知見を得ることを目的として、実際の評価事例に基づく客観的かつ多角的な検証を実施した。

構成員

◎：座長 ○：座長代理（五十音順、敬称略）

- 池田 俊也 国際医療福祉大学医学部公衆衛生学 教授
- 宇田 晃仁 米国研究製薬工業協会 H T Aタスクフォース副委員長
- 江崎 稔 国立がん研究センター中央病院肝胆膵外科 科長
- 大曲 貴夫 国立国際医療研究センター 副院長
- 川崎 洋平 埼玉医科大学 R A センター 教授
- 後藤 励 慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科 教授
- 齋藤 信也 岡山医療専門職大学 学長
- 新谷 歩 大阪公立大学大学院医学研究科医療統計学 教授
- 白岩 健 国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター 上席主任研究官
- 薄井 紀子 東京慈恵会医科大学腫瘍・血液内科 客員教授
- ◎ 中村 洋 慶應義塾大学大学院経営管理研究科 教授
- 山口 拓洋 東北大学大学院医学系研究科医学統計学分野 教授
- 湯浅 晃 日本製薬工業協会産業政策委員会産業振興部会 費用対効果評価対応チームリーダー

※その他、オブザーバーとして、欧州製薬団体連合アクセス・薬価委員会 飯野崇氏、慶應義塾大学大学院経営管理研究科 五十嵐中氏、浜松医科大学医学部附属病院薬剤部 川上純一氏、筑波大学医学医療系ヘルスサービスリサーチ分野 田宮菜奈子氏、米国医療機器・I V D 工業会保険委員会 西川和彦氏 等が出席

開催概要

事務局：研究班

第1回 2026年5月25日

- (1) 座長及び座長代理の選出
- (2) 厚生労働省から費用対効果評価制度の説明
- (3) 検証で議論する内容についての確認

第2回 2026年6月16日

- (1) 分析ガイドラインの説明
- (2) 『健康アウトカムの改善』の科学的根拠 議論や論点のサマリー
- (3) 公的分析における『健康アウトカムの改善』の評価について
- (4) 各品目における評価①（5品目）

第3回 2026年7月13日

- (1) I C E R の不確実性 論点とサマリー
- (2) 公的分析における不確実性の取り扱いについて
- (3) 各品目における評価②（3品目）
- (4) 比較対照技術の臨床的妥当性 論点とサマリー
- (5) 公的分析における比較対照の取り扱いについて
- (6) 各品目における評価③（3品目）

第4回 2026年8月4日

- (1) 議論のとりまとめについて 1

第5回 2026年8月18日

- (1) 議論のとりまとめについて 2

① 比較技術に対する健康アウトカム指標での改善の評価における科学的根拠について

＜製造販売業者が提示した論点＞

- ・薬価算定と費用対効果評価における有用性評価の相違
- ・『健康アウトカムの改善』が示されず、費用増加となった分析対象集団を含む品目の価格調整
- ・薬価制度と費用対効果評価制度の整合性

＜公的分析による追加の説明＞

- ・公的分析における『健康アウトカムの改善』の評価基準
- ・『健康アウトカムの改善』を示す責任の所在
- ・評価のあり方と評価結果の活用の区別

＜委員の主な意見＞

- ・臨床医には、価格の高い新薬には既存治療を上回る有用性があると受け止める可能性があり、『健康アウトカムの改善』が明確に示されていない場合には、誤解を招くおそれがある。
- ・『健康アウトカムの改善』を念頭に置いたデータ取得を治験段階や薬事承認後も進めるとともに、リアルワールドデータを含め、必要なエビデンスについて関係者が早期に相談できる仕組みが重要である。
- ・費用対効果評価終了後に新たなエビデンスが得られた場合には、再指定できる仕組みがあるため、この仕組みを活用して再評価することが望ましい。
- ・薬価制度における有用性加算の要件となっている有用性を、費用対効果評価の中でどう評価するかは、今後研究として取り組む必要があるのではないか。

＜まとめ＞

- ・『健康アウトカムの改善』は、健康アウトカムに基づき、学術的妥当性及び国際的標準との整合性を確保して評価することが基本である。
- ・『健康アウトカムの改善』の評価にあたっては、薬価算定時の有用性との違い等に留意すべきといった意見や、新たなエビデンスが得られた場合の再評価の活用を推進すべきといった意見もあった。
- ・必要に応じて『健康アウトカムの改善』が示されていない」と判断した理由やその根拠を適切に提示することも考えられた。

② I C E Rの不確実性への考慮について

＜製造販売業者が提示した論点＞

- ・階段方式による I C E Rの区分で、価格調整時の不確実性を吸収し切れない
- ・前提の違いによって I C E Rが乖離し、意思決定を左右しうる
- ・シナリオ分析が価格調整で考慮されない

＜公的分析による追加の説明＞

- ・公的分析における不確実性の評価
- ・感度分析を用いた分析結果の頑健性の確認
- ・評価結果の解釈と意思決定における取扱い

＜委員の主な意見＞

- ・公的分析と企業分析の結果が異なる場合には、専門組織以外に、手続や判断の妥当性を確認する仕組みは考える余地があるか。
- ・構造的な不確実性など、階段方式では十分に吸収しきれない不確実性について、どのように評価し意思決定につなげるかが重要な課題ではないか。
- ・日本の費用対効果評価制度は価格調整を目的としており、保険償還の可否も判断する英国の制度とは異なるため、N I C Eと同様の組織を設けるべきかどうかは別の議論である。
- ・議事録の公開が評価完了後に行われることから、企業は、専門組織の議論をすぐに知ることができない。企業が専門組織の議論を傍聴したり、議論に参加したりすることはできないか。
- ・専門組織では、不確実性のあるデータや分析結果を踏まえて、どのように結果を解釈して判断に至ったかを、製造販売業者、医療関係者、国民に分かりやすく示すことが重要である。

＜まとめ＞

- ・I C E Rの不確実性については、構造的な不確実性を含め、分析結果の頑健性を確認した上で評価することが基本である。
- ・基本分析における I C E Rの点推定値を用いること等について留意が必要であると言った意見もあった。

③ 比較対照技術の臨床的妥当性について

＜製造販売業者が提示した論点＞

- ・現行の比較対照技術の選定方法では、臨床実態との乖離が生じる
- ・複数の比較対照技術の活用に関する課題
- ・比較対照技術の臨床的妥当性の確保

＜公的分析による追加の説明＞

- ・比較対照技術の選定における基本的な考え方
- ・複数の比較対照技術の設定に関する考え方
- ・現行の運用の妥当性

＜委員の主な意見＞

- ・費用対効果評価における比較対照技術の選定は、制度の目的や運用を踏まえて考える必要があり、価格調整を目的とする日本の制度においては、導入可否の判断を前提とする諸外国の考え方をそのまま適用することは適切ではない。
- ・諸外国においても複数の比較対照技術を用いた分析が行われる場合があるものの、価格決定や意思決定の段階では、最終的にベースケース分析を定める必要があり、日本の運用もその考え方と大きく異なるものではない。
- ・分析前協議や専門組織における議論の過程で、代替可能性、治療効果、使用実態及び患者集団の考え方について、より丁寧に説明することが重要である。
- ・患者ごとに複数の治療法を使い分けがあるのであれば、費用対効果評価において、サブグループとして分けるべきである。

＜まとめ＞

- ・比較対照技術については、分析ガイドラインに基づき、治療効果がより高いものを選定することが基本である。
- ・臨床現場において複数の治療選択肢が存在する場合には、比較対照技術を一つに定めることについて臨床実態との関係が問われ得ることや、選定理由が十分伝わりにくい場合があることについて留意が必要であるといった意見もあった。