

# 中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会・薬価専門部会 ・保険医療材料専門部会合同部会 意見陳述資料 2018年12月19日

日本医療機器産業連合会(JFMDA) 日本医療機器テクノロジー協会(MTJAPAN)  
米国医療機器・IVD工業会(AMDD) 欧州ビジネス協会(EBC)医療機器・IVD委員会



## (1) 費用対効果評価の活用方法

### 基本的な考え：

- 医療の価値を適切に評価するという観点から、費用対効果評価が重要であることについては業界として十分理解しており、丁寧に議論を進めて頂いていることに感謝している
- 費用対効果評価の活用方法については、以下の考えに賛同する
  - 材料価格制度を補完するという観点から活用することを基本とする
  - 保険償還の可否の判断に用いるのではなく、価格の調整に用いる
  - デバイス・ラグを生じさせない観点から、一度、材料価格を設定して保険適用し、後から価格調整を行う
- 費用対効果評価に関する主な検討課題（後述）については、以下のような医療機器の特性等を十分に配慮した制度として頂きたい
  - RCTが倫理的に困難である等の理由により、有効性・安全性データが十分に得られない場合が多い
  - 製品と医療従事者のスキル等が融合して医療技術となるため、医療機器のみによる効果を定めにくい（習熟に時間がかかる／製品改良による臨床的違いが分かりにくい）

## (2) 対象品目の選定基準

### ①費用対効果評価の対象とする品目の範囲、選択基準(1/2)

- 医療保険財政への影響度等の観点から、財政影響が大きい（市場規模が一定程度を超える）製品を対象とすること、また当面は新規収載品を対象とする考えに賛同する
- 財政影響の考え方から、対象品目の選定基準は医薬と同じとすべきであると考え
- なお、医療機器の補正加算には画期性加算・有用性加算・改良加算・市場性加算等がある。しかしながら、改良加算及び市場性加算については、患者のQOLに必ずしも直結しない評価要素が含まれることから、費用対効果評価の対象とするのは適切ではない。画期性加算・有用性加算が認められた品目に限定するのが適切であると考え  
　　<患者のQOLに必ずしも直結しない評価要素の例>
  - 医療従事者への高い安全性
  - 廃棄処分等が環境に及ぼす影響が小さい

## (2) 対象品目の選定基準

### ①費用対効果評価の対象とする品目の範囲、選択基準(2/2)

- 既収載品については、効能追加等により市場規模が大きく拡大した品目等を評価の対象とする考えについて、理解はできるものの、新規収載品と同様に、画期性加算・有用性加算が認められた品目を対象とすべきと考える
- ただし、同一機能区分内に複数品目を有する場合は、個々の品目の費用対効果評価の結果が異なることが想定され、機能区分の考え方に馴染まないことから、評価の対象から除外すべきと考える
- あえて機能区分内の1つの製品を対象とする場合、他の品目においても評価を行うことができるような配慮が必要であると考え

例えば、

- 同一機能区分内の個々の品目についても、希望に応じて評価を行い、異なる費用対効果評価の結果が出た場合は、新たな機能区分が設定されるようにする
- 費用対効果評価を行っている間に、当該機能区分に異なる製品が収載された場合においても、希望に応じて評価を行えるようにする

## (2) 対象品目の選択基準

### ② 稀少疾患や重篤な疾患等への対応について

---

- 対象患者数が少ないため単価が高くなってしまいう品目として、以下の品目を費用対効果評価の対象から除外する考えに賛同する
  - 治療方法が十分に存在しない希少な疾患のみに用いられる品目（試行的導入時の例として、指定難病、血友病及びHIV感染症）
  - 小児のみに用いられる品目等の対象患者数が少ない品目
- なお、上記以外にも下記のような品目については、対象患者数が少なくなり単価が高くなる場合があることから、除外品目に含めるか対象品目選定の段階で検討すべきと考える

例えば

- 材料価格算定に関する留意事項において、患者の状態や使用施設が限定される場合 など

### (3)分析のプロセス

#### ①分析前協議（事前協議）の方法

---

- 企業の分析に先立ち、分析前協議を充実させ、「分析対象技術」、「比較対照」、「効果指標」、「効果データ、費用データ」等の「分析の枠組み」を検討することには賛同する
- なお、費用対効果評価を適切に行うために、医療機器の特性及び分析対象技術を十分理解した上で「分析の枠組み」を検討する必要があると考えることから、以下の点に配慮頂きたい
  - A) 「分析の枠組み」の検討に当っては、臨床の専門家※の見解を必要とすることも想定されることから、分析前協議等への臨床の専門家の参画を検討頂きたい（7頁参照）
  - B) 「分析の枠組み」の検討の際に、データが不足する場合の分析の在り方についても検討頂きたい（10頁参照）

※ この資料における「臨床の専門家」とは、公的分析班とともに厚生労働省及び国立保健医療科学院に助言をする臨床の専門家を指す

### (3)分析のプロセス

#### ②費用対効果評価専門組織の役割、体制等(1/2)

- 臨床の専門家の関与範囲について、専門組織に限らず、分析前協議や公的分析の過程においても、必要に応じて協議に参画できる仕組みとして頂くことで、企業との協議・論点整理をタイムリーにまた適切に行うことに寄与できると考える
  - 分析前協議や公的分析の途中においても、企業と公的分析班で見解が分かれた場合など、臨床の専門家を交えた丁寧な協議が必要となる可能性がある
    - 医療機器では頻回な製品改良により、旧世代の製品と比べ効果または費用が著明に改善し、旧世代製品のエビデンスを採用することが適切ではない場合がある【製品改良効果】
    - 医療機器の効果は、医療従事者の技術や医療機関の実施体制の影響を受けることから、製造販売承認時のエビデンスが分析時点の実臨床と乖離する（外的妥当性が低い）場合がある【習熟効果】

### (3)分析のプロセス

#### ②費用対効果評価専門組織の役割、体制等(2/2)

- 中立的な立場から専門的な検討を行うため、専門組織の委員構成を「医療経済の専門家」、「臨床の専門家」、「医療統計の専門家」、「医療倫理の専門家」及び「分野毎の臨床の専門家」とすることとし、専門組織において、企業が意見を直接表明し、必要な質疑応答を行うことについて、賛同する
- なお、専門組織における意見聴取の方法としては、協議の透明性の観点から、企業と公的分析班がそれぞれの意見を専門組織の場で表明し、お互いに質疑応答、意見交換を十分に行えるよう希望する

試行的導入においては、

- 企業からの意見表明時間は10分間に限られ、分析の枠組みを説明する時間としては十分ではなかった
- 企業と公的分析班のそれぞれが個別に意見表明を行ったが、お互いの意見の相違点に関して、十分に協議することができなかった



### (3)分析のプロセス

#### ⑤分析にかかる標準的な期間の設定

- 品目選定から企業分析提出までの期間について、9か月と提案されているが、試行的導入における経験を踏まえると、9か月で適切な分析を行うことは極めて困難であり、以下の対応を検討頂きたい
  - 当面は、標準的な期間を1年間と設定して頂きたい
  - また、以下のような事由により、当初の想定よりも長期の分析期間を要する場合が想定されることから、個別の分析期間の設定に当たっては柔軟な対応をお願いしたい
    - レジストリデータ等の新規取得に係る手続き
    - NDBデータの取得に係る手続き など

(参考) 試行的導入においては、「事前協議」および「枠組みに基づく企業分析」に、それぞれ6か月を要している

品目選定～企業分析提出	1年程度
(内訳) 事前協議 (中医協における品目選定～専門組織における分析枠組みの決定)	
平成28年4月～平成28年9月	6か月程度
枠組みに基づく企業分析 (分析開始～企業分析結果の提出)	
平成28年10月～平成29年4月	6か月程度

### (3) 分析のプロセス

#### ⑥データが不足している場合の対応

---

- 医療機器においてはその特性から、比較試験が実施されない場合（別紙①参照）があり、費用対効果評価に用いる追加的有効性・安全性データが不足するケースが生じる
- このような場合、費用最小化分析をすることになっているが、医療機器の有用性を適切に評価するために、以下のような比較試験以外の研究を用いた分析方法等の適用も含めて、分析前協議において検討させて頂きたい
  - 単群試験
  - 市販後のレジストリ等のリアルワールドデータ
- なお、上記の対応を行った場合でも、ICERを用いた費用対効果評価の実施が困難な場合も想定されることから、分析前協議における「分析の枠組み」の検討の際に、分析の要否についても検討頂きたい（別紙②参照）

### (3)分析のプロセス

#### ⑦分析ガイドラインのあり方

---

- 試行的導入で明らかになった技術的課題を踏まえて、分析ガイドラインの改定を行うことに賛同する
- 試行的導入で課題となった項目について分析ガイドラインの見直しが行われているところだが、別途、業界との意見交換の機会を希望する

試行的導入でガイドラインの解釈が一致しなかった事項の例：

- ① 評価対象技術の範囲（どの製品世代（改良前・後）まで含めるか など）
- ② システマティックレビューの実施方法（エビデンスレベルと実臨床への応用可能性をどう考慮するか など）
- ③ 医療機器の分析にかかる事項（習熟度や製品世代が異なることで実臨床と大きく乖離する場合 など）
- ④ 追加的有効性・安全性が示されていると判断できない場合における分析方法（比較試験以外の研究を用いた分析方法 など）
- ⑤ 費用推計の方法（適切なデータベースの選択 など）

## (4)総合的評価

### ③評価結果のとりまとめ方、報告、公表の仕方

- 分析手法、分析結果、議論の経緯、評価結果の詳細については、企業に確認のうえ公開することとしてはどうか
  - ただし、分析結果には個別品目の未公開情報を含む可能性があることから、承認審査に係る報告書と同様、マスキングできることとするのが適当ではないか
  - 公開する範囲・分量については、①分析手法などの知見を産学に蓄積する、②議論の経緯の透明性を担保する、などの目的に鑑み、報告様式の標準化を図る観点から、研究者向けの報告様式ガイダンスであるCHEERS声明<sup>\*1</sup>を参考としてはどうか
    - 想定される公開範囲：評価結果、ICER、分析手法

\*1: CHEERS (The Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards) : ISPORのタスクフォースによる医療経済評価ガイドラインに対する報告様式ガイダンス

## (5) 価格調整

### ①価格調整の対象範囲、⑤価格調整率

- 材料価格制度を補完するという観点に基づき価格調整の対象範囲を設定することに賛同する
- 価格調整対象は、類似機能区分方式・原価計算方式ともに、画期性の程度等による加算の対象部分とすべきと考える
  - 特に原価計算方式においては、総原価を割り込むべきではないと考える
- 材料価格制度における評価との整合性の観点から、それぞれの加算（画期性、有用性）に応じて価格調整後の加算率の下限を設定してはどうか
  - 例えば
    - 画期性加算（50%～100%）においては、価格調整後の加算率の下限が有用性加算の加算率の上限（30%）を下回らない など
- なお、価格調整にあたっては、安定供給に支障をきたす水準までの引下げとならないよう配慮頂きたい

## (5) 価格調整

### ② ICERに応じた価格調整方法

- 「ICERが一定の幅をもって評価された場合にも対応できる価格調整方法」を採用するとの考えに賛同する
  - ICERに幅が生じる理由としては、企業分析と公的分析班で異なる分析方法を採用したことによるもののほかに、分析に用いる有効性データ・モデル推計・費用のパラメータ等の不確実性に基づくものがある
    - 不確実性が分析結果に与える影響の大きさを評価するために、感度分析が行われている
    - 比較臨床試験が限定的な場合や、臨床試験のN数が少ない場合には、感度分析で表されるICERの幅が大きくなる
  - 「一定の幅をもって評価」するにあたっては、シナリオ分析や感度分析で表されたICERの幅を十分に踏まえた評価として頂きたい
- 価格調整方法については、階段方式とし、ICERの幅が閾値をまたぐ場合に、どちらの段で価格調整を行うのが科学的により妥当かについて、中立的な専門組織で検討するとの考えに賛同する
- なお、費用対効果の良い医療機器の開発を促進する観点から、費用対効果が良い場合はドミナントに限らず、加算等を使って一定の評価をして頂きたい

## (5) 価格調整

### ④総合的評価において配慮が必要とされた品目の価格調整方法

---

- 対象患者数が少ないため単価が高くなってしまふ品目や、ICERでは品目の有する価値を十分に評価できない品目については、価格調整において基準値を別に設定するとする考えに賛同する
- なお、「先駆け審査指定制度」における対象品目、「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」における選定品目、「革新的医療機器条件付早期承認制度」の対象品目、及び、「条件及び期限付承認を受けた再生医療等製品」に該当する品目についても、これらの制度の趣旨に鑑み、同様に配慮を行うことが適当と考える

## (5) 価格調整

### ⑥ 比較対照技術に対して費用が削減される品目等への対応

- 試行的導入においては、比較対照技術に対して、効果は同等もしくは増加し、費用が削減される品目（ICERが算出不能な品目）のうち、以下の条件を満たす品目について価格の引上げが行われた

- |   |
|---|
| <p>条件① 比較対照品目より効果が高いこと（又は同等であること）が臨床試験等により示されていること</p> <p>条件② 比較対照品目と比べて、全く異なる作用機序を有する品目であること</p> |
|---|

- 上記条件②の、「全く異なる作用機序を有する品目」について、費用対効果の観点と異なることから、条件から除外すべきと考える



## (5) 価格調整

### ⑦ 価格調整のタイミング、手続き

---

- 在庫への影響等を考慮して、調整後価格の公表から実際の価格調整までに一定の期間を設けて頂きたい
- なお、費用対効果評価の結果を受けて価格調整を行った品目については、以下の理由から、次期の再算定及び実勢価格調査による調整の対象から除外して頂きたい
  - 日本の制度環境における効果と費用を反映した評価を踏まえて、価格調整が行われたため
  - 頻回な価格変更による診療現場の混乱を回避するため

# 米国の医療機器臨床試験の状況

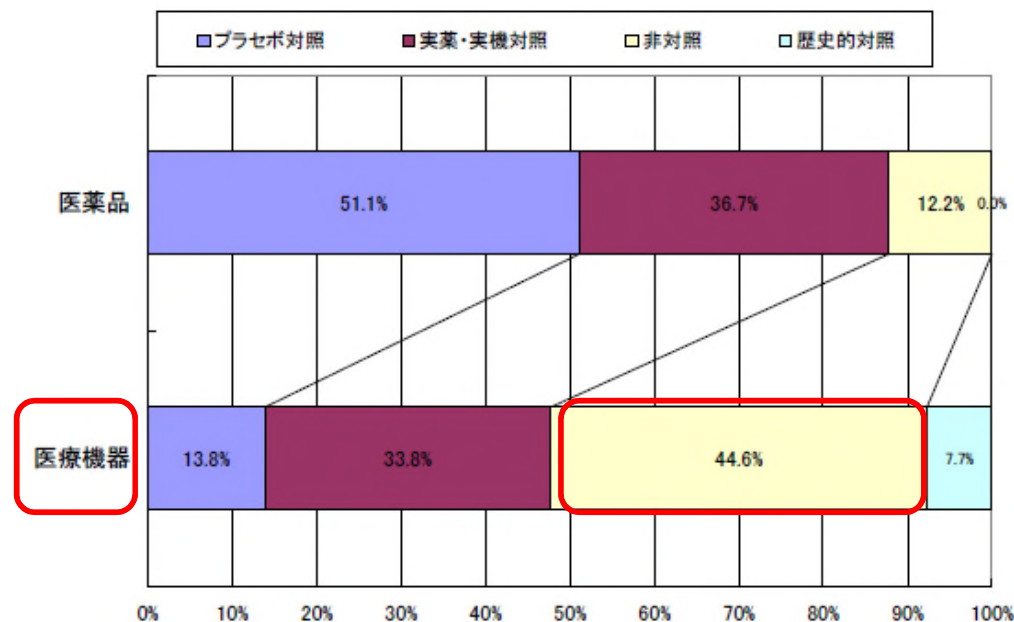
(2007-2010年に登録された1,978件について)

米国における医療機器の臨床試験1,978件のうち、プラセボか実機を対照とする試験は48%にとどまり、45%は比較対照がない

比較試験が実施されない背景には、以下のような医療機器の特性がある

- 比較臨床試験の実施が倫理的に許容されない／症例を集めるのが困難  
(例：CABG vs. PCI)
- 改良の結果が即座に判明することから、比較臨床試験が不要  
(例：手術時間の短縮、機器の小型化) など

## 試験デザインの比較 (対照／コントロール)



引用：「米国の医療機器臨床試験の現状分析～ClinicalTrials.gov の登録データを用いて～」 財団法人医療機器センター附属医療機器産業研究所リサーチペーパーNo.3

# 豪州MSAC\*<sup>1</sup>による治療系医療機器の評価結果

別紙②-1

(1999-2017年に実施された133件のうち結果公表済の101件について)

- 海外のHTAの経験からも、医療機器ではデータ不足により分析不能となるケースが想定される
  - － 豪州における治療系医療機器の医療技術評価（有効性、安全性、経済性）101件のうち、費用対効果評価を実施したのは54%であり、26%は評価を実施していない（別紙②-2参照）

## 費用対効果評価が困難であった理由

- ・有効性データが存在しない（特に追加的有効性データがない）
- ・豪州における費用データが存在しない
- ・有効性データがあっても、エビデンスレベルが低くバイアスが大きい（RCTでない等）など

## QALYによる分析が困難であった理由

- ・十分なQOLデータが存在しなかった
- ・QOLの改善効果が示唆されているが、収集したデータからQOL値への換算が困難

# 豪州MSAC\*1による治療系医療機器の評価結果

別紙②-2

(1999-2017年に実施された133件のうち結果公表済の101件について)

費用対効果評価	分析手法		件数		
実施	QALYを用いる「費用効用分析」 (CUA : Cost-Utility Analysis)	CUAのみ	22	29 (29%)	55 (54%)
		CUA・CEA併用	6		
		CUA・CMA併用	1		
	QALY以外のアウトカム指標を用いる「費用効果分析」 (CEA : Cost-Effectiveness Analysis)		14		
	費用最小化分析 (CMA : Cost Minimization Analysis)		12		
非実施	費用比較・費用分析のみ		19		46 (46%)
	評価なし		26		
	PBAC*2が実施		1		
合計			101 (100%)		

\*1 MSAC (Medical Services Advisory Committee) 豪州の医療機器・サービスに関するHTA機関

\*2 PBAC (Pharmaceutical Benefits Advisory Committee) 豪州の医薬品に関するHTA機関