

指定企画「医薬品・医療機器の費用対効果の評価と応用 -日本の現状と今後の展望-」

「医薬品・医療機器企業の対応」

2021年10月29日

一般社団法人医療システムプランニング
米国医療機器・IVD工業会(AMDD) 医療技術政策研究所
田村誠

利益相反(COI)

以下の団体から報酬を得ている

- 一般社団法人 医療システムプランニング
- 一般社団法人米国医療機器・IVD工業会
- 公益財団法人医療機器センター

本発表は個人的な見解に基づいており、所属する団体を代表しているものではない。

費用対効果評価対象品目（評価終了品目を除く）（令和3年10月13日時点）

No.	総会指定	品目名	効能・効果	収載時価格※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	H 1 (市場規模が100億円以上)	2020/4/8	公的分析中
2	8	カボメテイクス (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	H 1 (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	H 1 (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 (ノバルティスファーマ)	脊髄性筋萎縮症	167,077,222円	50%	42億円	H 3 (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	H 1 (市場規模が100億円以上)	2020/11/11	公的分析中
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	H 1 (市場規模が100億円以上)	2021/4/14	企業分析中
7	17	ポライピー (中外製薬)	リンパ腫	298,825円 (30mg) 1,364,330円 (140mg)	5%	120億円	H 1 (市場規模が100億円以上)	2021/5/12	企業分析中
8	18	ダラキューロ (アオンファーマ)	多発性骨髄腫、全身性 ALアミロイドーシス ^{※6}	432,209円	5%	370億円	H 1 (市場規模が100億円以上)	2021/5/12	企業分析中 ^{※6}
9	19	アリケイス (イヌメット)	肺非結核性抗酸菌症	42,408.40円	10%×0.2 ^{※2} (2%)	177億円	H 1 (市場規模が100億円以上)	2021/5/12	企業分析中
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	H 5 (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)	片頭痛	41,356円 (70mg 1mL 1キット)	なし	153億円	H 5 (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	H 2 (市場規模が50億円以上)	2021/8/4	分析前協議中
13	25	ベクルリー (キリアド・サイエンズ)	SARS-CoV-2による感染症	63,342円 (100mg 1瓶)	なし	181億円	H 1 (市場規模が100億円以上)	2021/8/4	分析前協議中
14	26	Micra 経カテーテル ペーシングシステム (日本メトロニク)	※7	1,170,000円	10%	77億円	H 2 (市場規模が50億円以上)	2021/10/13	分析前協議中

※1 収載時価格は、キット特徴部分の原材料費除いた金額。

※2 加算係数(製品単価の表示率に応じた加算率)・・・表示率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、公的分析中。

※6 全身性ALアミロイドーシスについては令和3年8月25日に効能追加され、分析前協議中。

※7 主な使用目的:本品は、カテーテルを用いて経皮的に右心室内に留置される電極一体型の植込み型心臓ペースメーカーである。なお、本品は適宜条件に適合する場合にのみ限定的にMRI検査が可能となる機器である。

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（ゲラツ・ミズクリン）	COPD（慢性閉 塞性肺疾患）	236億円	H 1（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 （バルティスタマ）	白血病	72億円	H 3（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 （アレクソカマ）	発作性夜間ヘモ グロビン尿症	331億円	H 1（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（アストセ）	COPD（慢性閉 塞性肺疾患）	189億円	H 5（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 （バルティスタマ）	気管支喘息	251億円	H 5（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 （ゲラツ・ミズクリン）	COPD（慢性閉 塞性肺疾患）	130億円	H 5（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）	リンノ腫	79億円	H 5（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 （セルゲ）	リンノ腫	82億円	H 5（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	トリンデリックス （武田薬品工業）	うつ病・うつ状態	227億円	H 1（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	H 2（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 （バルティスタマ）	慢性心不全	141億円	H 5（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	H 5（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（ゲラジ・スズカイ）	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（バルチミン）	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（アルゴファマ）	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	トリンデリックス（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

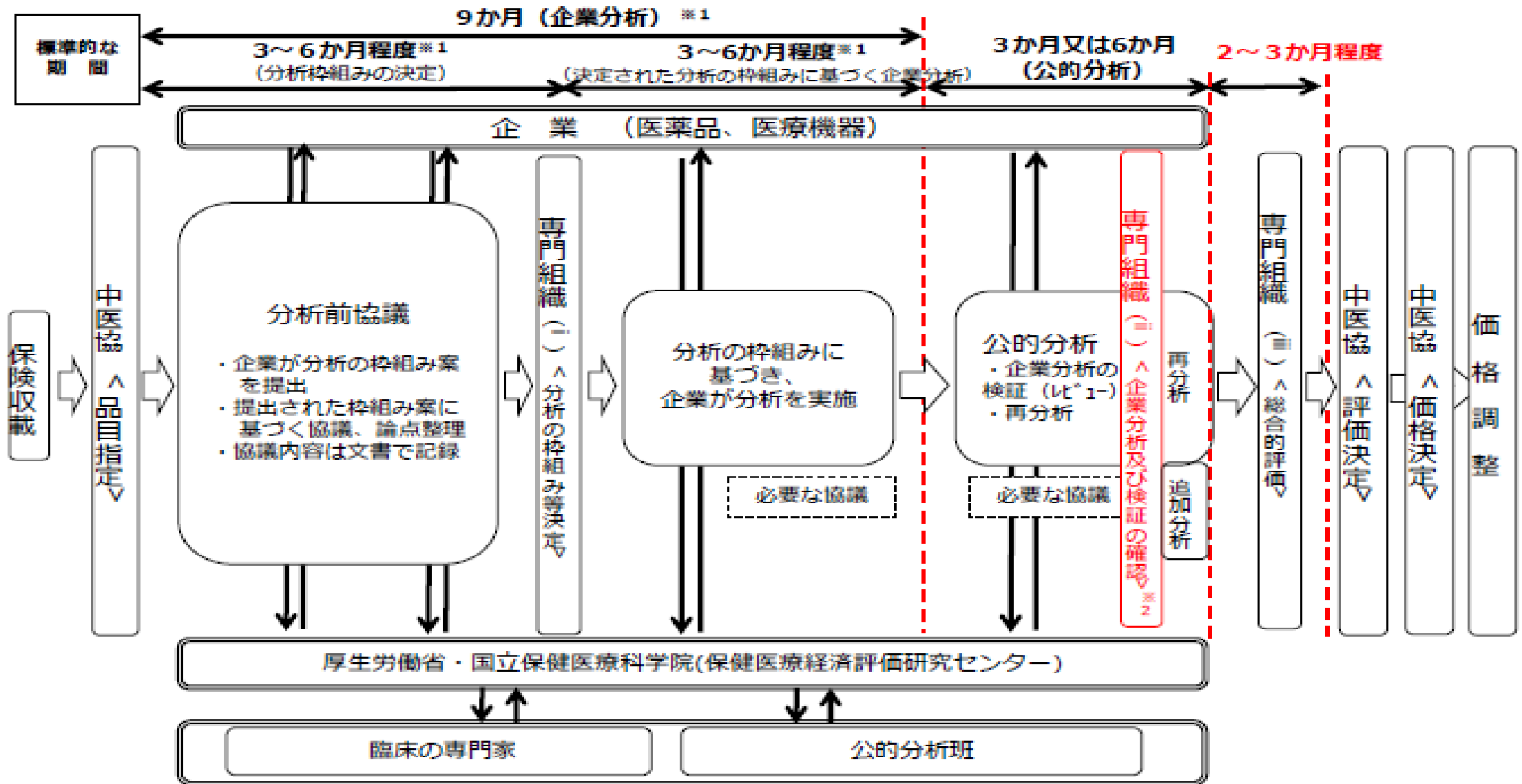
（現行の規定）

- 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。

(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。

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。

プロセスについてのいくつかの考察 —薬事申請や保険適用申請との比較において—

- 企業側の対応スピード
 - ✓薬事や保険では、企業は短期間でのプロセスを望むのに対して、費用対効果評価では期間について早期に行うインセンティブがないとされる
 - ✓薬事や保険でも、一度、部会や専門組織の日程が設定されると、理不尽なほどのスピードでの対応を求められることがあり、さほど大きな違いはないか
- 意思決定者・関与者
 - ✓薬事や保険では、幅広い形で、臨床専門家等のエキスパートは議論・決定に関わるが、部会や専門組織等の意思決定機関の前には実質的に行政が意思決定を行うことが一般的
 - ✓費用対効果評価では、分析全体に大きな影響を及ぼす分析前協議を含め、行政よりも専門家に、多くの側面において議論の方向付けが委ねられている印象

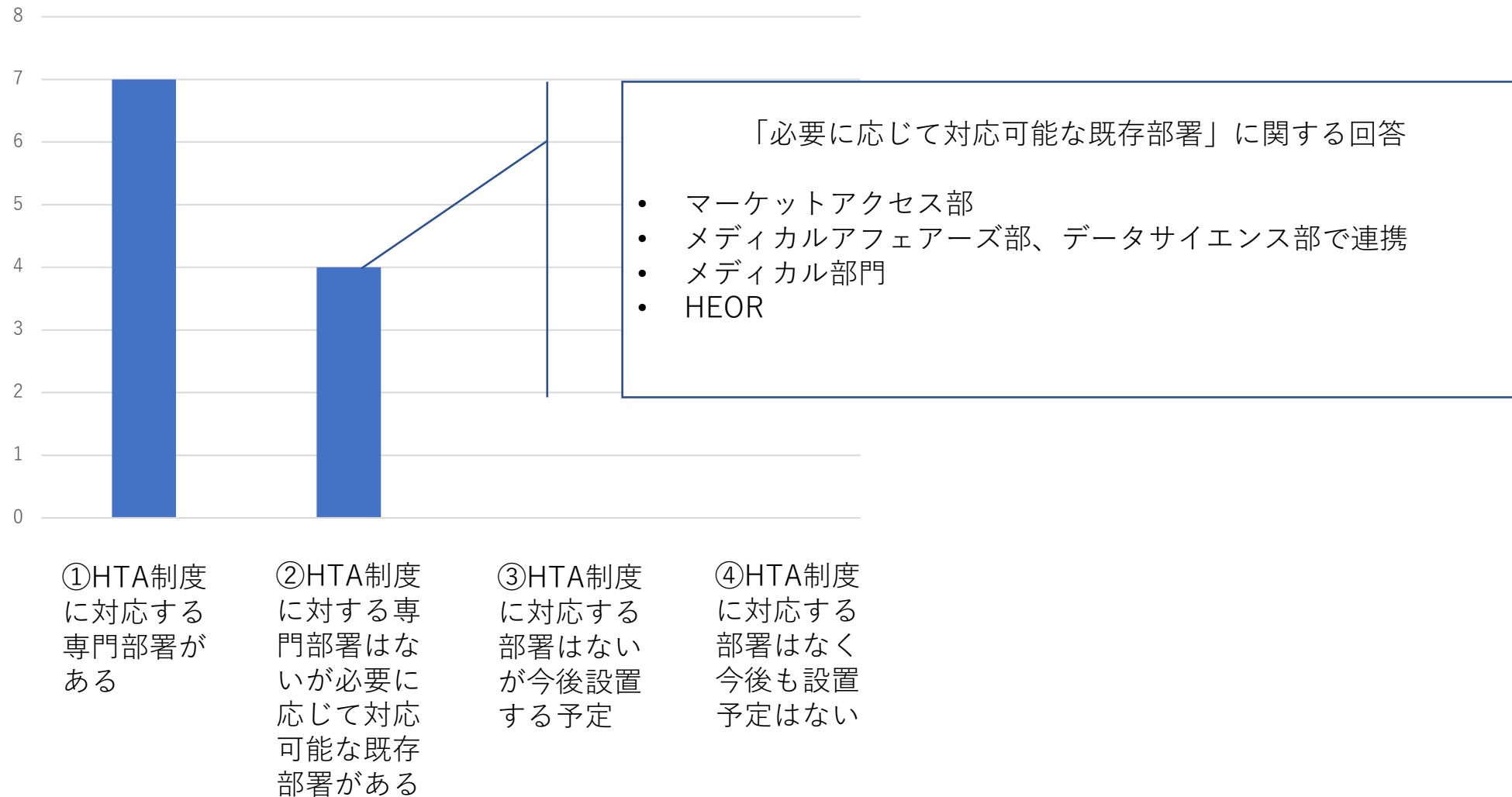
ISPOR日本部会賛助会員に対する 調査結果

1. アンケート概要

- 調査期間：2021年9月27日～10月8日
- 調査対象：ISPOR日本部会賛助会員である製薬会社・医療機器会社26社中11社（製薬会社10社、医療機器会社1社）より回答
- 質問内容
 - I. 貴社における体制
 - II. 必要な人材
 1. 担当者に必要な資質
 - a. 教育（学位・知識等）
 - b. 経験
 - c. 能力
 - d. その他
 2. HTA担当者を育成するためにアカデミアに期待する点
 - a. 企業担当者向けの教育
 - b. それ以外（学生など将来的な人材等）
 - III. 企業としての体制整備・対応にあたっての困難な点（困難さや懸念を解消するためにアカデミアや行政に期待することも含む）

2. 貴社における体制

貴社には、費用対効果評価制度（以下HTA制度）に対応する専門部署がありますか？



3. 必要な人材

(1) 貴社ではHTA制度の担当者にはどのような資質が求められると思いますか？

教育（学位・知識等）

- 医療経済に関する専門知識(サイエンティフィックな専門知識並びに日本における政策的な経緯に関する知識)
- 対象とする疾患領域に関する知識、臨床疫学に関する知識
- 日本の医療制度の基本・動向の理解、海外の関連制度の知識
- 疫学、医療経済などの修士レベル以上が望ましい（ただし、チームで対応するため、必須事項ではない）
- 学位はMPHかPhD(医学系/薬学系/理数系も可ですが+ α の教育が必要)

経験

- 日本のHTA制度において分析前協議から総合的評価、価格調整まで一通り経験した者が望ましい
- 製薬業界で5年以上の実務経験（特に医療経済、生物統計、薬事、マーケットアクセス、プロジェクトマネジメント関連業務の経験が望ましい）
- HEOR/CEA関連領域の研究の計画策定と実施、論文/学会発表等アウトプットの創出までの一連のプロジェクトマネジメントを推進した経験
- 製薬企業の臨床開発部門または安全性部門で3年程度

3. 必要な人材

(1) 貴社ではHTA制度の担当者にはどのような資質が求められると思いますか？

能力

- 費用効果分析に関する分野のスキル、社内外での高いコミュニケーション・交渉力、プロジェクトマネジメント能力
- ベンダーマネジメント
- 英語（論文の理解、グローバルメンバーとのコミュニケーション）
- Strategic Mindset
- Scientific Background

その他

- 薬価制度の理解
- 機械的に分析するのではなく、対象疾患の自然史や診断、治療状況をしっかりと把握する必要性認識を持つことが重要
- 納得性の高い行政提出資料を作成するためのロジカル思考および予定外の突発事項などに対応できる俊敏性

3. 必要な人材

(2) HTA制度の担当者を育成するためにアカデミアに期待する点は何ですか？

企業担当者向けの教育

- 企業内で研修は難しいので、アカデミアで企業からも参加できる教育プログラムを数多く実施してもらいたい（慶応大学の医療経済評価人材育成プログラム、東京大学のHTAエキスパート養成講座など）
- 海外との比較の中で日本型HTAの説明を通じ教育してもらいたい。 Global 企業の場合、Globalの担当者とのモデリングなど様々な項目において意思疎通をする上で必要
- 現行の費用対効果評価制度にとらわれすぎない、医療経済学等の専門性からの教育
- 現状の費用対効果評価に必要なスキル習得（C2Hとの交渉が可能なレベル）
- 当局との意見交換の場を提供いただくことも期待

その他

- 何のためのHTAといった点をしっかりと教育していただきたい。
- アカデミックな観点だけでなく、ビジネス感覚を身に付けて頂くような教育も行って頂かないと即戦力にはならない
- レセプトデータベース（医療データベース）の分析を行えるデータサイエンティストの育成
- 厳しいカリキュラムでしっかりと教育を進めていただければと思います。特に当局担当者になれる方については博士課程でレベルを確保頂きたいです。
- アカデミアに企業が準備する内容を相談できる人を増やしてほしい

4. 企業として体制整備・対応にあたっての困難な点

- HTA担当者はどんなに素晴らしい分析をしても、結果が引下げとなるとよい評価が望まれないため、モチベーションを保つのが難しい。
- 疾患モデルの構築にやや強引さを感じられるケースが多い。適切な分析モデルによる費用対効果分析を行わなければ、将来的に費用対効果分析による判断もしくは費用対効果分析を行うそもそもの意義が損なわれていくように感じています。この課題を解消するためには、適切な分析モデルをしっかりと構築できるような疫学データの充実が求められる

- 日本ではHTAが価格調整に使われていることにより、薬価制度における費用対効果評価の分析方法の一部について学術的に妥当とされる方法との違いがある。人材教育の際には、学術的な費用対効果分析と、価格調整に用いられる費用対効果評価制度の異同を正確に教育していただきたい。
- 現行の費用対効果評価制度では、企業のHTA担当者は、サイエンスの観点から説明が難しい立場になることがあり、モチベーションの維持や、将来的な企業における体制整備や人材育成も困難となる可能性あり。企業担当者の育成、長期的にはHTAに携わる人材全体への影響を考慮して、HTAの制度を運用していくことをアカデミアの先生方には発信していただきたい。

調査結果の考察—まとめに代えて

- 各方面のご協力もあり、企業の体制は整備されつつあるのではないかと
➤ただし、人材育成には時間を要する
➤一方、企業間格差（業界間格差）は大きい模様だが
- 厳しい立場におかれるHTA担当者の状況が浮かび上がった
➤問題の所在はどこか（日本の制度vs海外の制度、学問vs現実、説明方法）
 - ✓ HTAを償還価格決定後に行うこと、価格調整に用いていることが背景にあるか
➤価格下げを抑える以外の役割を担えないか（市場拡大再算定の緩和や手上げ方式等）
- 企業により一層の学習の機会を！

謝辞

- ISPOR会員向けの調査にあたり、ご協力をいただいた皆様、および、調査設計・実施にご尽力をいただきましたISPOR日本部会の東理事と小林事務局長に厚く御礼申し上げます