

費用対効果評価に関する検討について

1. 本日の検討課題

- 費用対効果評価に関する検討については、検証の進捗状況の報告も行いながら、速やかな検討が求められる課題や検討可能な課題から順に検討を進めることとしている(図1)。

(図1)中医協における検討スケジュール

(平成30年6月13日:中医協 費薬材-2:一部改)

3. 今年度の中医協における検討スケジュール(案)

- 費用対効果評価に関する検討については、速やかな検討が求められる課題や検討可能な課題から順に検討を進め、関係業界からのヒアリングも行った上で、内容についてとりまとめを行う。
- 検討課題のうち、特に「(2)企業によるデータ提出」ならびに「(3)再分析」は、試行品目の検証作業に直接関わることから、当面はそれ以外の項目を中心に検討を進める。
 <検討課題>
 (1)対象品目の選定 (3)再分析 (5)価格調整
 (2)企業によるデータ提出 (4)総合的評価
- 検討については、検証の進捗状況の報告、有識者による検討結果の報告を行いながら行う。

中医協における検討(主な流れ) (部会、合同部会)	
6月	○6月13日 検討の進め方、具体的な検討  <div style="border: 1px dashed black; padding: 5px; margin-left: 20px;"> <主な事項> ・検討課題についての議論 ・検証の進捗状況の報告 ・有識者による検討結果の報告 </div>
秋以降	○関係業界からのヒアリング ○費用対効果評価の案を提示 ○関係業界からのヒアリング ○費用対効果評価の内容についてとりまとめ

- 本日は制度化に向けた検討課題のうち、「(1)対象品目の選定、(2)企業によるデータ提出、(3)再分析、(5)価格調整」について検討を行う。

(表1)制度化に向けた主な検討課題 (下線部が本日の主な検討課題)

(1)対象品目の選定	①費用対効果評価の対象とする品目の範囲 ②選択基準(補正加算、市場規模等) ③除外基準 <u>④品目選定のタイミング</u> <u>⑤対象品目の選定及び公表の手続き 等</u>
(2)企業によるデータ提出	<u>①分析前協議(事前相談)の方法</u> <u>②分析にかかる標準的な期間の設定</u> ③分析ガイドラインのあり方 <u>④費用対効果評価専門組織等の関わり 等</u>
(3)再分析	<u>①分析にかかる標準的な期間の設定</u> ②第三者的視点に立った透明性の高い組織・体制のあり方 <u>③費用対効果評価専門組織等の関わり 等</u>
(4)総合的評価 (アプレイザル)	①科学的な観点からの検証方法 ②倫理的、社会的影響等に関する考慮要素 ③評価結果のとりまとめ方 ④評価結果の報告、公表の仕方 ⑤第三者的視点に立った透明性の高い組織・体制のあり方 等
(5)価格調整	①価格調整の対象範囲 ②価格調整率 ③価格調整にかかる基準値の設定(支払い意思額調査を含む。) ④価格調整係数 <u>⑤価格調整のタイミング 等</u>

(※)2017年12月20日:中医協(費薬材-1)(総-2))(抜粋)

- 具体的には、以下の内容について、検証の結果ならびに費用対効果評価に関する有識者による検討結果を踏まえて協議を行う。

(1)品目の選定

- ① 選定のタイミング
- ② 選定及び公表の手続き

(2)分析のプロセス(企業分析、再分析)

- ① 分析前協議(事前協議)の方法
- ② 費用対効果評価専門組織等の関わり
- ③ 分析実施中の協議
- ④ 再分析の方法
- ⑤ 分析にかかる標準的な期間の設定
- ⑥ 臨床の専門家の参画
- ⑦ データが不足している場合等の対応

(3)価格調整

- ① 価格調整のタイミング
- ② 価格調整の手続き

2. 検討課題

(1)品目の選定

①選定のタイミング

< 試行的導入における取組 >

- 既収載品(13品目)については、選定基準に該当する品目について、厚生労働省で確認の上、平成28年4月及び7月に選定を行った。
- 新規収載品(4品目)については、選定基準に該当する品目について、厚生労働省で確認の上、保険収載希望時に選定を行った。
- なお、新規収載品については、可能な範囲で、保険収載希望時に企業分析の提出を求めていたが、提出できたのは4品目中1品目のみであった。また、新規収載品は企業において一定の加算を希望したもの、という選定基準に該当し選定されたものであるが、これらのうち保険適用にあたり加算が認められたのは3品目であった。

< 検討の視点 >

- 費用対効果評価の対象となる品目については、速やかに選定することのできる仕組みが求められる。
- また、費用対効果評価に係る体制には限りがあることから、分析・評価を円滑に進めるためには、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方が望ましい。
- こうした状況を踏まえると、
 - ・新規収載品については保険収載を機に選定する(年4回)
 - ・既収載品については新規収載品の状況を踏まえつつ、選定基準を満たす品目から優先的に評価が必要な品目を選定する等の対応が考えられる。

< 論点 >

- 新規収載品及び既収載品について、どのようなタイミングで選定することが望ましいのか。

②選定及び公表の手続き

< 試行的導入における取組 >

- 新規収載品、既収載品のいずれについても、選定基準に該当するか否かの確認を厚生労働省が行い、中医協に報告した。

< 検討の視点 >

- 対象品目の選定については、中医協で定められた選定基準を満たすか否かについて、中立的な立場の者が確認したうえで、透明性をもって決定することが考えられる。
- 新規収載品については、保険収載における一連の手続きの中で、薬価算定組織及び保険医療材料専門組織において、該当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するなどの手続きが考えられる。
- 既収載品については、厚生労働省において選定基準に該当するか否かの案を作成し、同じく中医協総会において了承するなどの手続きが考えられる。

< 論点 >

- 対象品目の選定について、中立的な立場の者が確認した上で、透明性をもって決定するため、どのような手続きが望ましいか。

(2)分析のプロセス(企業によるデータ提出、再分析)

①分析前協議(事前協議)の方法

<試行的導入における取組>

- 試行的導入においては、企業分析を開始する前に、分析に関する事前協議を行い、一定の合意を得た上で進めたが、互いの認識の違いや、より適切なデータについての見解の違いが残ったまま分析を行ったため、一部の品目において企業分析と再分析の分析結果が大きく異なることとなった。
- 検証においては、分析に先立ち、昨年の分析で用いられた枠組み案をもとに協議、論点整理を行い、その結果をもとに費用対効果評価専門組織(以下:専門組織)において品目ごとの分析の枠組み^(※)を協議、決定し、その枠組みに基づき分析を進めた。(図1)
(※)分析の枠組み…対象集団、比較対照技術、費用・効果の評価方法等
- また、検証では、分析内容の臨床的妥当性を確認するため、専門組織の下に、評価対象品目の分野毎に、当該分野の臨床の専門家や医療経済評価の専門家等からなるワーキンググループ(WG)を新たに設けた。

<検討の視点>

- 事前協議により決定される「分析の枠組み」は、それによって品目の分析内容の大枠が決定されるものであり、充実させる必要がある。
- 事前協議の内容については、臨床的に妥当な内容を中立性を確保しながら決定することが必要。そのため、臨床の専門家による確認を行った上で、専門組織で決定するといった手続きが求められる。
- また、事前協議の段階で決定可能な事項と、分析前には決定することができず、その後の分析(企業分析、再分析)を進める中で協議することが必要な事項については、あらかじめ整理しておく必要がある。たとえば、事前協議の段階では、対象集団、比較対照技術、分析に用いる臨床試験等の基本的な方針を決定することとなるが、分析中に新たに得られた知見への対応など、データ分析を進める中で協議が必要となる事項も存在する(詳細は(2)③ 分析実施中の協議を参照)。

<論点>

- 事前協議について、どのような手続きで進めるのが望ましいか。
- 事前協議で決定する事項について、その具体的な内容をどうするか。

図1：試行的導入における検証での取組

(平成30年3月7日：中医協 費薬材-3：一部改)(抜粋)

ii)分析・評価に関する事前協議の実施

<背景>

- 試行的導入においては、企業分析を開始する前に、分析に関する事前相談を行い、一定の合意を得た上で進めたが、互いの認識の違いや、より適切なデータについての見解の違いが残ったまま分析を行ったため、一部の品目において企業分析と再分析の分析結果が大きく異なることとなった。
- 関係業界からは、事前に当局や専門組織と十分に協議を行い、分析の方向性・枠組みに合意した上で分析を行うことが必要であるとの意見があった。

<検討の視点>

- 分析前に、分析の枠組み(※)について決定し、その決定に基づき分析を行うことにより、効率的かつ透明性をもって、分析・評価を進めことができると考えられる。

(※)分析の枠組み：対象集団、比較対照、費用の算出、分析方法 等

<具体的な対応案>

- 分析に先立ち、企業及び当該分野のWGからの意見も踏まえ、専門組織において品目ごとの分析の枠組みを協議、決定し、原則としてその枠組みに基づき分析を進めることとしてはどうか。

iii)分析方法の明確化

<背景>

- 試行的導入においては、「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」(以下、分析ガイドライン)に基づき分析が行われたが、一部の品目においては、分析ガイドラインの解釈方法の違いにより、分析結果が大きく異なることとなった。
- 関係業界からは、品目の特性を踏まえた評価とするための検討が必要との意見があった。

<検討の視点>

- 分析ガイドラインにおいては、分析対象集団、比較対照、データソースなど、分析に関する基本的な考え方が記載され、その考え方にに基づき個別の品目における具体的な分析手法を検討する必要があるが、現状では、その運用方法が明確になっていないため、分析結果に相違が生じたと考えられる。
- そのため、分析ガイドラインに記載された基本的な考え方について、各品目の特性を踏まえた分析手法の具体化に関する運用方法を明確化することにより、分析結果の相違を縮めることが可能と考えられる。

<具体的な対応案>

- 今回の検証においては、分析ガイドラインの内容を踏まえつつ、品目ごとに分析ガイドラインの運用方法等についての明確化等をWG及び専門組織において行うことにより、品目の特性を踏まえた分析を目指すこととしてはどうか。

②費用対効果評価専門組織等の関わり

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入では、企業分析を開始する前に、専門組織において分析内容に関する一定の確認を行った上で企業分析、再分析を行った。しかし、互いの認識の違い等により、一部の品目において企業分析と再分析の分析結果が大きく異なることとなった。
- 検証においては、分析前に分析の枠組みについて専門組織がより詳細に確認・決定を行った。併せて、分析後には専門組織は分析内容が分析の枠組みに従っているか等についての確認を行った。(図1)

< 検討の視点 >

- 費用対効果評価の科学的妥当性や中立性を確保するためには、各段階で専門組織が関与することが求められる。
- 例えば、事前協議の内容については、臨床的に妥当な内容を中立性を確保しながら決定することが必要。そのため、臨床の専門家による確認を行った上で、専門組織で決定するといった手続きが求められる。(再掲)
- 具体的には、専門組織には、以下の3つの役割が考えられるのではないか。
 - (i) 事前協議の内容の確認、分析の枠組み等の決定
 - (ii) 企業分析の内容の確認(決定された分析の枠組みに基づいて分析が行われているか等)
 - (iii) 企業分析ならびに公的分析の結果に基づく総合的評価
- 専門組織において、企業からの意見表明の機会を設けることとしてはどうか。

< 論点 >

- 費用対効果評価の科学的妥当性や中立性を確保するため、分析、評価の過程において専門組織がどのような役割を果たすのが適当か。
- 専門組織における企業意見の表明の機会について、どうすることが適当か。

③分析実施中の協議

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入では、一定の事前協議は行われたものの、分析実施中の協議は行われず、そのことが企業分析と再分析の分析結果が大きく異なる要因となった。
- 検証では、企業と再分析班が別々の分析を行うのではなく、分析の過程において必要な情報共有や意見交換を行いながら分析結果を得た。
- また、品目によっては、分析の途中に新たな知見が得られ、それが分析結果にも影響を及ぼすこととなった。

< 有識者検討会による検討 >・・詳細は(費薬材―5)を参照

- 試行的導入では分析に先立ち一定の事前協議は行われたものの、分析実施中の協議は行われなかった。また、相互の協議の機会が限定されており、そのことが企業分析と再分析の乖離を生む一因となった。
- 事前協議において、分析の枠組み等につき議論を行い、相互の考え方を認識する必要がある。
- 一方で、事前協議の段階で分析方法を全て決めることは困難である。事前協議において決めるべき事項を定め、かつ、両方で分析についての見解の違いが生じないように、分析途中においても、必要に応じて協議できるような体制を整備する必要があるのではないかと。

< 検討の視点 >

- 分析前の協議において、分析の枠組み等について可能な限り決定し、それに基づき分析作業を進めるのが原則。
- 一方、試行的導入の経験を踏まえると、より科学的な分析を行うためには、事前協議を充実させるだけでなく、分析の過程において企業側と公的分析側が必要な協議を行うことも必要と考えられる。
- 具体的には、分析を進める中で生じた疑義への対応、分析実施中に得られた新たな知見を採用するか否かの判断など、分析に必要な事項について、相互に照会するなど、一定の協議ができる仕組みが必要ではないかと。
- ただし、協議については、いわゆる「交渉」となることを避け、中立性を保つことが求められる。例えば、分析実施中に得られた知見に関する協議など、科学的に必要と考えられる内容に限定すること、企業と公的分析班は直接接触しないこと、協議内容を記録した上で専門組織に報告する等のルールが必要。

< 論点 >

- 分析開始後の相互の協議の必要性についてどう考えるか。
- 協議を可能とする場合、科学的妥当性や中立性を確保するという観点から、どのようなルールを設けるのが適当か。

④再分析の方法

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入では、企業分析の内容にかかわらず、企業分析の後に再分析が独立して行われた。
- 検証では、企業と再分析班が別々の分析を行うのではなく、分析の過程において必要な情報共有や意見交換を行いながら分析結果を得た(再掲)

< 有識者検討会による検討 >・・詳細は(費薬材―5)を参照

- 試行的導入での方法では、企業分析の内容にかかわらず、独立した再分析を行うこととなる。
- 諸外国では、企業から提出された分析を検証(レビュー)する形式が一般的である。
- 企業分析の結果について、まず検証(レビュー)を行い、その内容が妥当と判断される場合は、再分析の必要はないのではないかと。
- ただし、企業が提出した分析に科学的な課題がある等の場合は、新たな分析の実施について検討する必要がある。

< 検討の視点 >

- 事前協議で分析の枠組みを決定した上で、分析開始後も必要に応じて協議を行うことができるのであれば、企業分析と再分析の結果に大きな乖離が生じる可能性は少なくなる。
- こうした状況の下、提出された企業分析の結果の科学的妥当性を検証(レビュー)を実施した結果、企業分析が一定の質を有している場合は、必ずしも独立した再分析を行う必要はない。他方、企業分析に課題があり、科学的妥当性に疑義がある場合などは、新たに独立した分析(再分析)を行うことが求められる。
- このように、企業分析の後に行われる公的な分析の役割は、品目によって異なることが見込まれる。
- 公的に行われる検証(レビュー)及び再分析については、両者を合わせて「公的分析」と呼ぶこととしてはどうか。

< 論点 >

- 企業分析の後に行われる公的な分析について、その役割及び内容をどうするのが適当か。
- 公的に行う分析について、「公的分析」と呼ぶことについてどう考えるか。

⑤分析にかかる標準的な期間の設定

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入(既収載品)においては、品目選定から企業分析の提出までに約9ヶ月～1年、再分析に約6か月、総合的評価に約2か月を要した。(表2)

(表2)試行的導入(既収載品13品目)に係る主な取組状況(時系列)

	主な内容
平成28年4月	・中医協において対象品目の選定(12品目)
7月	・中医協において対象品目の選定(1品目追加:合計13品目)
9月	・専門組織において分析枠組み等の妥当性につき確認
10月	・企業分析を開始
平成29年4月	・企業分析の結果を提出
5月	・再分析を開始
10月	・再分析の結果を提出
11月	・専門組織における総合的評価、評価結果の決定
平成30年4月	・価格調整

(平成29年11月10日:中医協 費薬材-1:一部改)

< 検討の視点 >

- 費用対効果評価を適切に進める上では、事前協議、企業分析及び公的分析等について、その内容に応じて必要な期間を確保する必要がある。
- 例えば、事前協議において分析の枠組みを決定するためには、当該品目についてのシステムティックレビューに加えて専門的な検討、協議が必要であるなど、相応の期間を要することが想定される。
- 一方、費用対効果評価の結果に基づく価格調整を遅滞なく行うためには、各段階での標準的な期間を設定することが必要。
- 今後、評価手法の習熟や制度運用の効率化や諸外国の先進事例の分析・導入を進めることで、費用対効果評価の分析に必要な期間を短縮することが望まれるが、当面は試行的導入から得られた経験をもとに標準的な処理期間を設定する。

- そうした観点を踏まえると、たとえば、以下のような標準期間の設定が考えられる。

・企業分析	9ヶ月程度
(内訳)・事前協議(分析の枠組み決定まで)	6ヶ月程度
・枠組みに基づく企業分析	3ヶ月程度
・公的分析	3ヶ月程度(再分析を行う場合は6ヶ月)
・総合的評価及び価格決定	3ヶ月程度

< 論点 >

- 試行的導入及び検証分析の経験踏まえて、企業分析、公的分析、総合的評価等にかかる標準的な期間をどう設定するか。

⑥臨床の専門家の参画

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入では、評価対象品目について臨床の専門家が検討する公的な体制が存在しなかった。
- 検証では、分析内容の臨床的妥当性を確認するため、専門組織の下に、評価対象品目の分野毎に、当該分野の臨床の専門家や医療経済評価の専門家等からなるワーキンググループ(WG)を新たに設けた(再掲)。
- WGは事前協議の内容を確認するとともに、分析結果の確認を行った。専門組織はその検討結果を参考として、分析の枠組みや分析結果のとりまとめ、総合的評価を実施した。

< 検討の視点 >

- 試行的導入の経験を踏まえると、分析前の協議内容や分析内容について、当該分野の専門家が確認することができる公的な体制が求められる。
- 例えば、事前協議の内容については、臨床的に妥当な内容を中立性を確保しながら決定することが必要。そのため、臨床の専門家による確認を行った上で、専門組織で決定するといった手続きが求められる。(再掲)
- 専門家の参画方法としては、検証で行ったような品目ごとに当該分野のWGを設置する方法と、あらかじめ各分野の専門家を指名した上で、品目に応じて当該分野の専門家が確認する方法が考えられる。
- 今後、一定数の品目を効率的かつ的確に評価していくためには、薬価算定組織や保険医療材料専門組織と同様に、あらかじめ各分野の専門家を指名した上で、品目に応じて当該分野の専門家が分析内容等の確認を行うという体制が望ましいのではないか。

< 論点 >

- 費用対効果評価における分析や評価の臨床的妥当性について、当該分野の臨床の専門家が確認できる仕組みとして、どのような方法が望ましいか。

⑦データが不足している場合等の対応

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入において、評価に用いるデータが不足している等の理由で企業側が「分析不能」とした品目が2品目あった。
 - そのうち1品目(ジャック)については、再分析の結果も分析不能であった。
 - 他の1品目(インスピリス RESILIA 大動脈弁)については、再分析では分析可能とされた^(※)。
- (※)分析に用いるデータ範囲について、事前に協議をしていなかったため、再分析の結果が異なることとなった。

< 有識者検討会による検討 >…詳細は(費薬材-5)を参照

- 試行的導入では、評価に用いるデータが不足している等の理由により企業分析が「評価不能」とした品目についても再分析を行った。そのうち、再分析の結果も評価不能とされたものと、評価結果が得られたものがあった。
- 分析ガイドラインの解釈について、事前協議等において共通認識を得るよう取り組む必要がある。
- 早期に質の高いデータが提出されるような、何らかの制度的な工夫が必要である。

< 検討の視点 >

- 有効性に関するデータが不足している等の理由で、「分析不能」な品目が存在することが試行的導入を通じて明らかとなった。
- 分析不能であることが企業側及び厚生労働省において確認された品目については、専門組織の了承を得た上で分析・評価を中止することができる等の仕組みが求められる。
- 一方で、分析が可能であるにも関わらず、企業側が「分析不能」と判断する場合もありえる。その主な理由としては
 - (i)分析ガイドラインの解釈が統一されていないために、誤って分析不能としてしまう場合
 - (ii)費用対効果評価(価格調整)を回避するために、分析不能とする場合などが考えられる。
- このうち、(i)を防ぐためには、分析前の事前協議において、ガイドラインの解釈(分析・評価に用いるデータの範囲等)につき協議をすることが効果的と考えられる。
- また、早期に質の高いデータが提出されるような何らかの制度的な工夫を行った上で、企業が分析不能とした品目のうち、再分析及び専門組織で分析可能とされた品目については、再分析の結果を用いて価格調整を行うことが考えられる。
- 今後は、保険収載を視野に医薬品等の開発を進めている企業に対して、分析・評価に必要なデータの内容について周知するなどの取組も検討する必要があるのではないかと考えられる。
- 併せて、分析が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ことも必要。

< 論点 >

- 分析不能と判断された品目の分析・評価を中止する場合に必要な手続きとは。
- 企業が分析不能とした品目のうち、再分析及び専門組織で分析可能とされた品目への対応はどうするのが適当か。

(3) 価格調整

① 価格調整のタイミング

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入においては、2017年11月に総合的評価を実施し、中医協で決定された価格調整方法を用いて2018年4月に価格調整を行った。

< 検討の視点 >

- 費用対効果評価がなされた品目については、その結果をより速やかに価格に反映することが望ましい。
- 新医薬品、新医療機器(C1、C2、B3)については、年4回保険収載しており、費用対効果評価の結果に基づく価格調整についても、同じく年4回の保険収載の機会に行うこととしてはどうか。
- 併せて、在庫への影響等を踏まえ、調整後価格の公表から実際の価格調整までには一定の期間を設ける必要がある。

< 論点 >

- 評価結果を迅速に価格に反映させるとの観点から、改定薬価・材料価格の施行をどのタイミングで行うのが適当か。
- 調整後価格の公表から価格調整まで、在庫への影響等を踏まえ、一定の期間を設ける必要性についてどう考えるか。

② 価格調整の手続き

< 試行的導入における取組 >

- 試行的導入においては、専門組織における総合的評価の結果をもとに、中医協で決定された価格調整方法を用いて価格調整を行った。

< 検討の視点 >

- 価格調整については、分析及び評価が適正な手続きにより行われたこと、並びに、定められた価格調整方法によって行われたことを中立的かつ透明性をもって確認できる仕組みが必要。
- こうした観点、さらには品目の選定を中医協総会で行う方向で検討していることから、価格調整についても中医協総会の了承を得ることとしてはどうか。
- 具体的には、専門組織における評価結果(案)、作成した価格調整結果(案)を中医協総会に報告し、了承を得るという手続きが考えられる。
- また、これらの結果について、薬価算定組織、保険医療材料専門組織に報告することとしてはどうか。

< 論点 >

- 価格調整の手続きについて、中立性及び透明性を確保する観点から、どのような方法が望ましいか。