

### 意見陳述者一覧

#### 医薬品業界

団体名	役職	陳述者
日本製薬工業協会	会長	宮柱 明日香
日本製薬団体連合会	副会長	
米国研究製薬工業協会	在日執行委員会委員	傳 幸諭
	ヴァイスプレジデント (国際担当)	ケビン・ハニンジャー
欧州製薬団体連合会	理事長	青野 吉晃

#### 医療機器業界

団体名	役職	陳述者
日本医療機器産業連合会	副会長	宮田 昌彦
米国医療機器・IVD 工業会 (AMDD)	副会長	森川 智之
	保険委員会委員長	鴨川 幸子

(敬称略)

### ○城山英明部会長代理（東京大学大学院法学政治学研究科教授）

それでは、議事に入らせていただきたいと思います。今回は関係業界からの意見聴取を行いたいと思います。

関係団体として、

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会

欧州製薬団体連合会

日本医療機器産業連合会

日本医療機器テクノロジー協会

米国医療機器・IVD 工業会

欧州ビジネス協会医療機器・IVD 委員会

より意見を聴取させていただきたいと思います。

それでは早速になりますけれども、意見陳述に移りたいと思います。

進め方ですけれども、まず関係団体の皆さまよりプレゼンテーションをいただいて、そのあとに質疑を行いたいと思います。




関係団体の皆さまは最初に自己紹介をしていただいた上で、プレゼンテーションをお願いしたいと思います。

それでは、まず医薬品に関連する4団体よりプレゼンテーションをお願いいたします。

それでは、最初に日本製薬団体連合会副会長の宮柱さんのほうから、お願いいたします。

## 陳 述




## 1. 医薬品業界

中医協 費-1  
 7. 8. 6

### 2026年度費用対効果評価制度改革に向けた共同意見

ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの悪化と日本と世界の研究開発投資ギャップの拡大を防ぐために

- 
 費用対効果評価を価格設定や保険償還の可否判断に使用している他国では、革新的な医薬品への患者さんのアクセスする機会が大幅に低下している。より限定的な活用を行っている日本でさえ、更なる薬価引き下げと予測可能性の低下をもたらしている。
- 
 日本の費用対効果評価制度は、薬価制度の補完として加算部分の評価と価格調整に使用しているが、実際には、主として薬価引き下げツールとして運用されている。
- 
 骨太の方針2025に明記されている通り、費用対効果評価制度導入後6年間運用されてきた現在、検証は不可欠である。制度の拡大ありきで議論を進めるのではなく、現行の運用を見直し、改善すべきである。

### ○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

皆さま、おはようございます。日本製薬工業協会の宮柱と申します。

まず私からは製薬協、PhRMA、EFPIA の3団体を代表しまして、2026年度費用対効果評価制度改革に向けた共同意見を述べさせていただきます。

私どもとしましては、ドラッグラグ、そしてロスの悪化と日本と世界の研究開発投資ギャップの拡大、こちらをですね、防ぐことが重要であると考えております。

背景として1つ目。費用対効果評価を価格設定、そして保険償還の可否判断に使用している他国では、革新的な医薬品への患者さんのアクセスの機会がですね、大幅に低下している状況がございます。

また、より限定的な活用を行っている日本でさえ、更なる薬価引き下げと予測可能性の低下、こちらがもたらされている状況にあると捉えております。

また2つ目。日本の費用対効果評価は薬価制度を補完するものとして、加算部分の評価と価格調整に使用されますが、実際には主として薬価を引き下げるツールとして運用されている実態にあります。

そこで3つ目。私どもとしては、骨太方針2025に明記されておるとおり、費用対効果評価制度導入後、6年以上が経過した現在、「客観的な検証」が不可欠であると考えております。

重要なことは、現行制度の拡大ありきで議論を進めるのではなく、現行の運用をしっかりと見直して、改善すべきところは改善するということでございます。

これがドラッグラグ・ロスの悪化、そして日本と世界の研究開発投資ギャップの拡大を防ぐことにつながると考えております。以上が3団体の合同意見となります。

中医協 費-2
7. 8. 6

## 費用対効果評価専門組織意見書(2025年7月16日) に対する意見

2025年8月6日

日本製薬団体連合会  
日本製薬工業協会  
米国研究製薬工業協会  
欧州製薬団体連合会

### ○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

続きまして、4団体を代表しまして、費用対効果評価専門組織意見書に対する意見を述べさせていただきます。

次、お願いします。

## 概要

### 意見書に対する主な意見

(詳細は以降のスライド参照)

有用性系加算がなく  
市場規模が大きい品目  
の取扱い

意見書 P4  
A 分析方法に関する事項 (4)その他

「加算部分の調整」という当  
初の目的および主旨を逸脱  
と認識、容認できない

追加的有用性がなく  
費用増加となった品目  
の取扱い

意見書 P4  
A 分析方法に関する事項 (4)その他

ICERと閾値の数値的乖離の  
みで価格調整の妥当性を判  
断するのではなく、**医薬品の  
多様な価値要素の評価と制  
度全体のバランスを踏まえ  
た検討が必要**

レケンビに係る  
特例的な取扱い

意見書 P4  
A 分析方法に関する事項 (4)その他

本取扱いは**当該製品に限定  
すべき**

1

こちらに「概要」として、意見書のうち、重要な3点に対する意見を示します。

まず左。有用性系加算がなく、市場規模が大きい品目の取扱いについては、加算部分の調整という当初の目的および趣旨を逸脱していると認識しており、容認できないと考えております。

真ん中。追加的有用性がなく費用増加となった品目の取扱いについては、ICERと閾値の数値的乖離のみで価格調整の妥当性を判断するのではなく、医薬品の多様な価値要素の評価と制度全体のバランスを踏まえた検討が必要と考えております。

右。レケンビに関わる特例的な取扱いについては、当該取扱いは当該製品に限定すべきというふうに考えております。

詳細

## A 分析方法に関する事項 (3) 価格調整における要件および配慮について

### 意見

#### 【現状および課題】

(価格調整における要件について)

- 令和6年度改定では、価格引き上げ要件の一部緩和を行ったところ。
- 見直し後において、価格引き上げとなった事例は、これまでない。
- 現行の価格引き上げの条件のうち、「比較対照技術と著しく異なること」という条件については、定性的な記載であって判断が困難であるとの意見があった。

#### 【対応案】

- 「比較対照技術と著しく異なる」ことという条件については、これまでに評価対象となった医薬品等の評価結果等を踏まえ、改めて、整理することとしてはどうか。

- 価格引き上げ条件について改めて整理することに異論はない。
- 価格引き上げ条件の整理にあたっては、仮に当該条件が緩和された場合、**評価が終了した品目の中で価格引き上げに該当するものがどの程度あったのかを検証**していただきたい。

2

以降のスライドには、意見書の各項目に対する意見をお示ししております。

本日は時間が限られておりますので、説明を割愛させていただきます。

中医協	費-3
7.	8.
	6

製薬協

## 費用対効果評価制度改革に関する意見

2025年8月6日

日本製薬工業協会  
会長 宮柱 明日香

### ○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

続きまして、費用対効果評価制度改革に関する製薬協の意見を述べさせていただきます。

費用対効果評価制度については、本来であれば米国のように企業が自由に薬価を決められる状況のほうがなじみが良いものと考えております。

一方で、日本においては既に精緻な薬価制度が存在しており、新薬への患者さんのアクセスを確保する観点から、薬価制度を補完する形で費用対効果評価制度が導入され、基本的には価格調整の対象範囲を加算部分としたものと理解しております。

この前提において、製薬協の意見を説明いたします。

次、お願いします。



はじめに

## 骨太方針2025における費用対効果評価制度に関する記載



経済財政運営と改革  
の基本方針2025

イノベーションの推進や現役世代の保険料負担への配慮の観点から、費用対効果評価制度について、客観的な検証を踏まえつつ、更なる活用に向け、適切な評価手法、対象範囲や実施体制の検討と併せ、薬価制度上の活用や診療上の活用等の方策を検討する。

費用対効果評価制度に関する箇所のみ抜粋

1


まず、骨太方針における費用対効果評価制度に関する記載ですが、客観的な検証を踏まえつつ、更なる活用に向け、適切な評価手法等の検討と併せ、薬価制度上の活用等の方策を検討することとされております。

次、お願いします。

製薬協意見の要約

骨太方針2025を踏まえて


製薬協

「現行制度の客観的検証」から「新たな制度のあり方を含む議論開始」へ

A 現行制度の課題と検証

制度導入後6年以上が経過しているいま


「客観的な検証」なしに現行制度の  
更なる活用や拡大をすべきではない



B 新たな制度に向けて

「客観的な検証」を踏まえて

「新たな制度のあり方」を含む  
中長期的な議論を開始すべきである  
その議論の場に積極的に参画したい



2

こちらは製薬協意見の要約をお示ししております。

われわれとしましては骨太方針の内容を踏まえ、まずは現行制度の「客観的な検証」を実施いただき、その上で「新たな制度のあり方」を含む議論を開始いただきたいと思いますと考えております。

大きく2つとなります。

左。「現行制度の課題と検証」については、当制度が導入され、6年以上が経過している今こそ、「客観的な検証」なしに現行制度の更なる活用や拡大はすべきではないということでございます。

右。「新たな制度に向けて」に関しては、「客観的な検証」を踏まえた上で、「新たな制度のあり方」を含む中長期的な議論を開始すべきであると。

また、その議論の場にも製薬協として積極的に参画してまいりたいということでございます。

次、お願いします。

費用対効果評価制度改革に関する意見  
本日の内容



**A 現行制度の課題と検証**

1. 製薬協の基本的な立場
2. 主要な課題と意見
3. 「客観的な検証項目」の案

**B 新たな制度に向けて**

1. 実現のために欠かせない要素
2. 「適切な評価手法」に関する提案

3

ここからは、「現行制度の課題と検証」について説明をさせていただきます。

次、お願いします。

**A 現行制度の課題と検証**

**当制度の本格導入時(2019年)の基本方針と目的の振り返り**

**当制度導入の基本方針**

国民の理解が得られること、制度が円滑に導入されることが考慮された  
透明性の高い仕組みとすること、財政への影響を考慮すること、とともに  
基本方針として以下を含む

**治療が必要な患者のアクセスを確保すること**

保険償還の可否判断ではなくいったん保険償還したうえでの価格調整に用いる

**既存の薬価制度を補完すること**

価格調整の対象範囲を**価格全体ではなく有用性系加算および営業利益部分**とする  
我が国の精緻な価格決定の仕組みとの整合性をとる

当時の医務技監の説明より

**当制度の目的**

**日本の費用対効果評価制度は**

- 1. 単にコストを減らすことが目的ではない**
- 2. イノベーションも評価する**

当制度を通じて達成すべきこと

- 無作為化比較試験による治験の限界の中から、できるだけリアルワールドデータに基づく評価をする
- 価値に基づいた医療を進める

[参考] 古元重和, 櫻本恭司, 長谷川正宇. 日本における費用対効果評価の取り組み—費用対効果評価制度の創設. 社会保険旬報. 2019;2752.

4

まず、当制度の本格導入時の基本方針と目的の振り返りでございます。

左側。本格導入時には、国民の理解が得られることと制度が円滑に導入されることが考慮され、

当制度導入の基本方針として、治療が必要な患者のアクセスを確保することから保険償還の可否判断ではなく、いったん保険償還をした上での価格調整に用いるということ。


また、既存の薬価制度を補完することから、価格調整の対象範囲を価格全体ではなく有用性系加算および営業利益部分とするということ等が基本方針とされていたと理解しております。

右側。当時の医務技監のご説明では、日本の費用対効果評価制度は、単にコストを減らすことが目的ではないこと。また、イノベーションも評価することが述べられております。

次、お願いします。

A 現行制度の課題と検証

1. 製薬協の基本的な立場


  
製薬協

**保険償還の可否判断に使用しない、価格調整範囲及び対象品目を拡大しない**

費用対効果評価制度において  
重要な3つの要件


1. 薬価制度との整合性が維持される

2. 革新性を阻害しない


3. ドラッグラグ・ロスを拡大しない

基本的な立場

費用対効果評価を  
保険償還の可否判断  
に使用しない



費用対効果評価の  
価格調整範囲及び  
対象品目を拡大しない



5

こうした背景も踏まえて製薬協の立場をお示しいたします。

費用対効果評価制度における重要な3つの要件は、

薬価制度との整合性が維持される。

革新性を阻害しない。

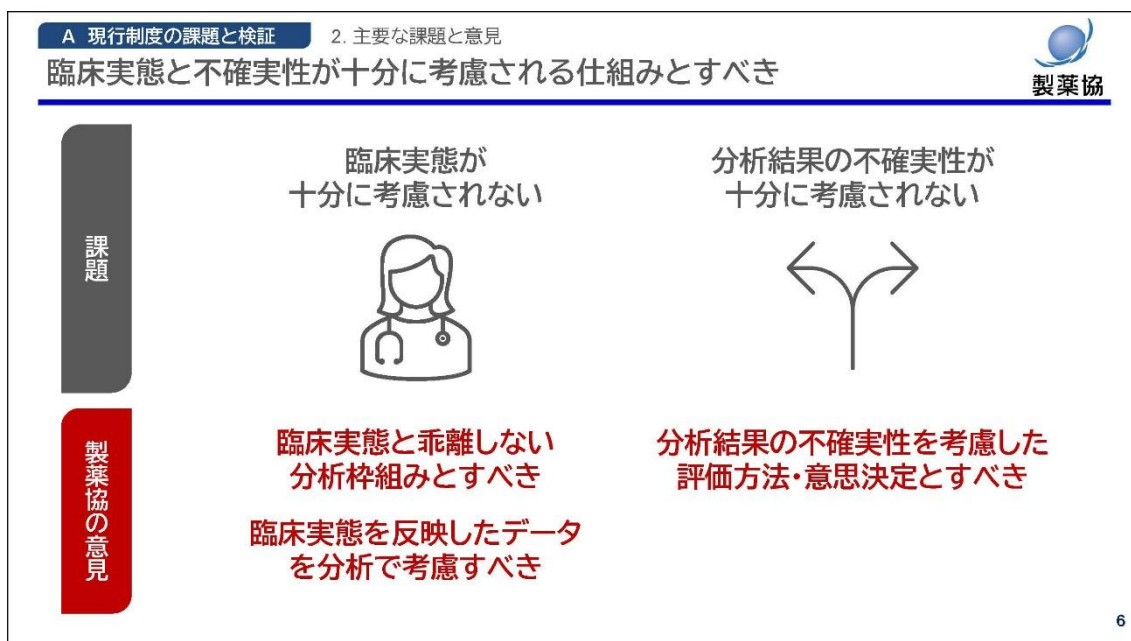
ドラッグラグ・ロスを拡大しない。

でございます。

製薬協としましては、これら要件を満たすため、費用対効果評価を保険償還の可否判断に使用しない。

費用対効果評価の価格調整範囲および対象品目を拡大しないとすることが重要であると考えており、これを基本的な立場としております。

次、お願いします。



現行制度には、主に2つの主要な課題があると考えております。

まず左側。費用対効果評価において、臨床実態が十分に考慮されないということです。

分析対象集団や比較対照技術を含む分析枠組みは、分析前協議等での議論を経て決定をされますが、臨床実態との乖離が見られる場合があると捉えております。

また、分析を実施する際にも必要なデータが不足している場合があります、これが考慮された事例は限定的であります。

そこで、臨床実態と乖離しない分析枠組みとすべきであること。

また、必要なデータが不足している場合は、臨床実態を反映したデータを分析で考慮すべきと考えております。

右側。費用対効果評価において、分析結果の不確実性が十分に考慮されないこと。

現行制度においては、費用対効果の分析で得られた単一の I C E R の値によって調整後価格が決定されます。

もちろん、総合的評価を含むプロセスの中で、最終的な評価結果や調整後価格が決定されることは承知をしております。

一方で、不確実性の高い分析結果に関して幅のある評価がなされているのか、不明瞭な部分もあると捉えております。


そこで、分析結果の不確実性を考慮した評価方法、意思決定とすべきと考えております。

次、お願いします。



A 現行制度の課題と検証

3. 「客観的な検証項目」の案

  
**製薬協**

製薬協による検証項目案も含め、十分な検証を実施すべき

**検証項目(案)**

市販後の臨床実態との整合性	不確実性が高い分析結果の取扱い	品目指定の除外基準など
<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 評価実施時点で設定された分析対象集団や比較対照技術は、市販後の臨床実態に整合しているか</li> <li>□ 評価実施時点で分析に用いたデータやエビデンスが不十分な事例はどの程度あるか また、市販後に追加データが得られてから分析を実施した方が望ましいと考えられた事例はどの程度あるか</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 価格調整における現行の配慮の対象(指定難病や小児、抗がん剤等)は十分か</li> <li>□ 不確実性が高い分析結果を考慮した幅のある評価がなされているか、機械的な価格調整になっていないか</li> <li>□ 不確実性が高い分析結果の考慮方法について、諸外国を参考に変更すべき点はないか</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 品目指定の除外基準について、「指定難病に対する治療のみ、血友病・HIV感染症、小児のみ」以外に除外すべきものがないか、緩和すべき基準はないか</li> <li>□ 分析において使用されたQOL尺度(EQ-5D)によって、健康状態を十分に捉えきれなかった疾患はなかったか</li> <li>□ 追加的有用性の判断基準は明確か また、一貫しているか</li> <li>□ 本制度の対応に係る企業側の体制、リソース(工数、期間等)の実態、負担はどの程度か</li> </ul>

EQ-5D, EuroQol 5 dimensions(医療経済評価の分析にしばしば用いられるQOL値算出のための指標)
7

冒頭に触れましたとおり、骨太方針においては「客観的な検証を踏まえつつ」とされました。

ここでは製薬協の考える検証項目の案をお示ししております。

制度導入後6年以上が経過している今こそ、特に市販後の臨床実態との整合性の観点。

不確実性が高い分析結果の取扱いの観点から十分な検証を行っていただき、製薬協も参画したいと考えております。

次、お願いします。



費用対効果評価制度改革に関する意見  
本日の内容



A 現行制度の課題と検証

1. 製薬協の基本的な立場
2. 主要な課題と意見
3. 「客観的な検証項目」の案

B 新たな制度に向けて

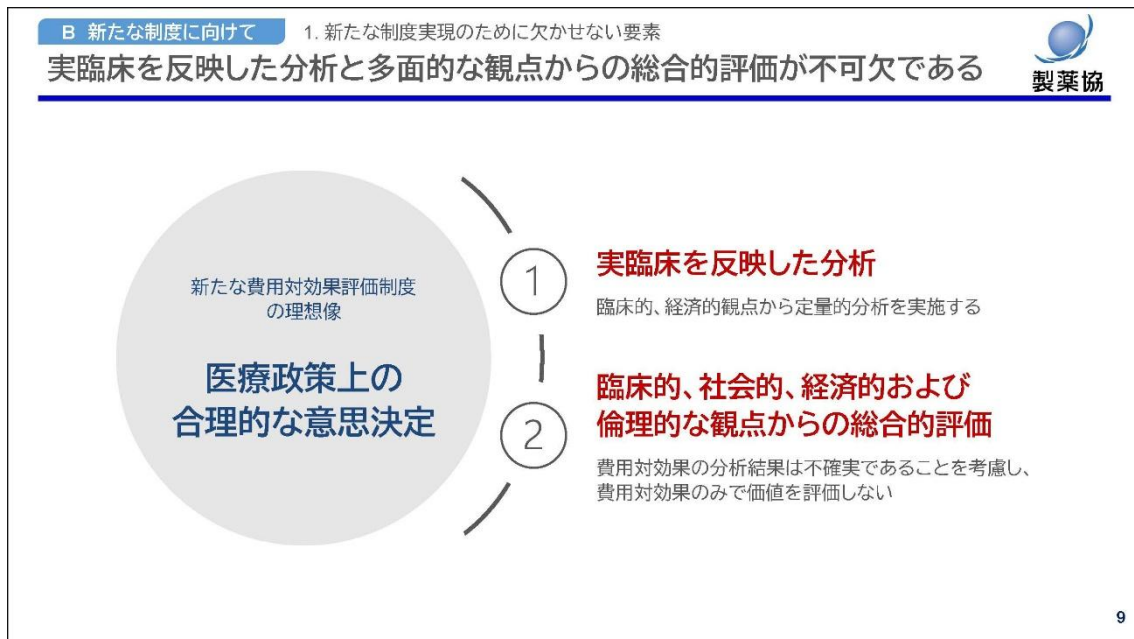
1. 実現のために欠かせない要素
2. 「適切な評価手法」に関する提案

8

ここからは、「新たな制度に向けて」について、ご説明をいたします。

前述の「客観的な検証」を踏まえた上で、現行制度における課題を解決できる「新たな制度のあり方」を含む中長期的な議論を開始すべきであると考えます。

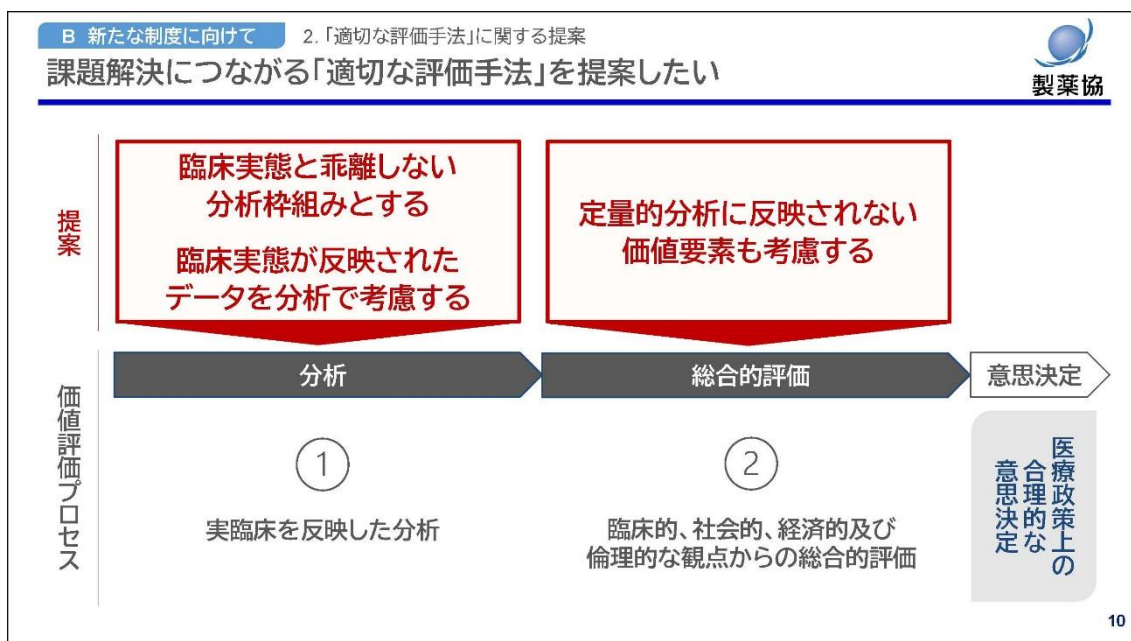
次、お願いいたします。



新たな制度実現のためには、実臨床を反映した分析と臨床的・社会的・経済的および倫理的な観点からの総合的評価が不可欠であり、

これらが医療政策上の合理的な意思決定につながるものと考えております。

次、お願いします。



骨太方針にも記載のある適切な評価方法の1つの形を提案させていただきます。

下のほうにですね、「価値評価のプロセス」として、「分析」「総合的評価」「意思決定」のプロセスを示しております。

「分析」においては、実臨床を反映した分析。

「総合的評価のプロセス」では、臨床的・社会的・経済的および倫理的な観点からの総合的評価が重要であり、これが医療上の合理的な意思決定につながります。

製薬協の提案は、最初の「分析」について、臨床実態と乖離しない分析枠組みとすること。臨床自体が反映されたデータ分析で考慮すること。次の「総合的評価」について、定量的分析に反映されない価値要素も考慮することです。


具体的な制度設計や評価方法等については、十分な検証を経てからの検証となりますが、私どもの提案をたたき台として、「新たな制度のあり方」を含む中長期的な議論を開始すべきであり、その議論の場に積極的に参画してまいります。

次、お願いします。

再掲

製薬協意見の要約

骨太方針2025を踏まえて




「現行制度の客観的検証」から「新たな制度のあり方を含む議論開始」へ

A 現行制度の課題と検証

制度導入後6年以上が経過しているいま


「客観的な検証」なしに現行制度の  
更なる活用や拡大をすべきではない



B 新たな制度に向けて

「客観的な検証」を踏まえて

「新たな制度のあり方」を含む  
中長期的な議論を開始すべきである  
その議論の場に積極的に参画したい



11

最後のスライドですが、製薬協意見の要約を再掲しております。

お時間をいただきまして、ありがとうございました。以上でございます。



○城山英明部会長代理（東京大学大学院法学政治学研究科教授）

はい。それでは、続きまして、米国研究製薬工業協会在日執行委員会の傳様よりお願いいたします。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい、おはようございます。PhRMA の傳と申します。本日は陳述の機会をいただき、ありがとうございます。

早速ですが、次のページをお願いいたします。

## 費用対効果評価制度のリスクと課題

費用対効果評価制度は、ドラッグ・ラグ/ロスの状況を悪化させないためにも、有用性系加算の評価と価格調整を行う現在の活用範囲を維持すべきである



世界において、価格決定や償還の可否判断に**費用対効果評価**を使用している国では、**革新的な医薬品への患者さんのアクセスが悪化**している。（別添1）



日本は、特許期間中における**革新的医薬品の有用性系加算部分**を対象とした価格引き下げ手段として、**費用対効果評価**を利用しており、その結果、市場の予見可能性を低下させている。（別添2）



日本政府は、費用対効果評価制度の拡大を検討しているが、**これにより薬価制度の予見可能性がさらに低下し、薬価制度において慎重な評価により付与されたインセンティブが不合理に削減されることになる。**（別添3）

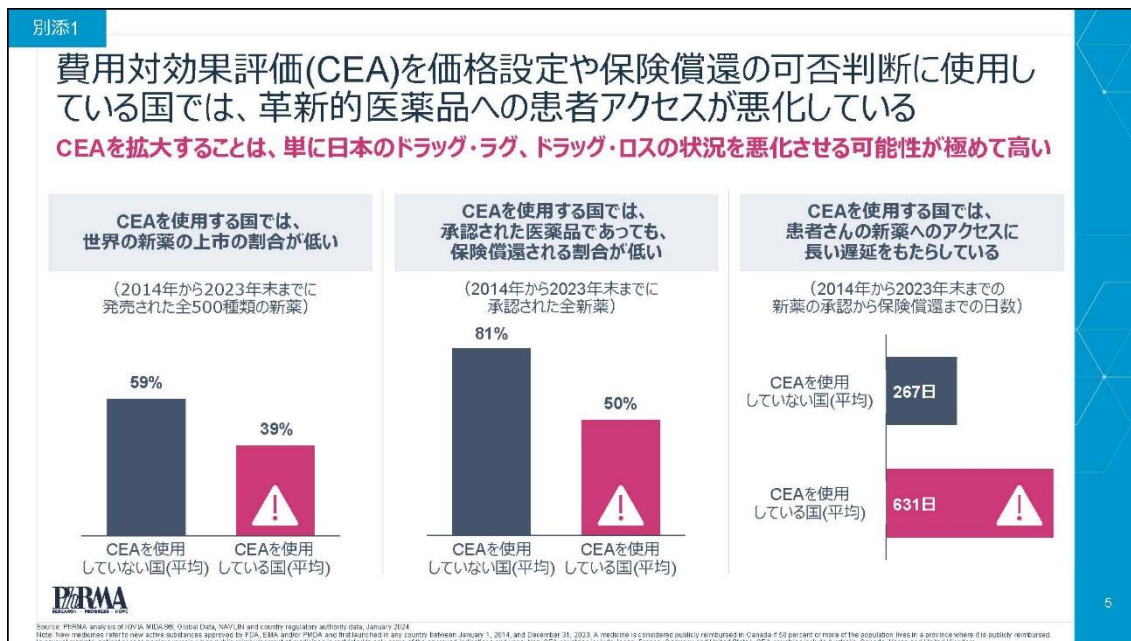


2025年5月に米国トランプ大統領は、「公正な市場価格よりも低い価格で他国で販売されることを抑制する」ことを目的に、最恵国待遇薬価の導入に関する大統領令に署名した。本政策において、日本が参照国となる可能性があり、**企業が日本での特許期間中の薬価引き下げが米国での価格に波及することを懸念し、日本への新薬導入に慎重になることで、ドラッグ・ラグ/ロスが悪化するリスクが大きく高まる恐れがある。**



2

まずはじめに、費用対効果評価制度はドラッグラグ・ロスの状況悪化させないために、有用性系加算の評価と価格調整を行う現在の活用範囲を維持すべきで、拡大すべきでないと考えています。

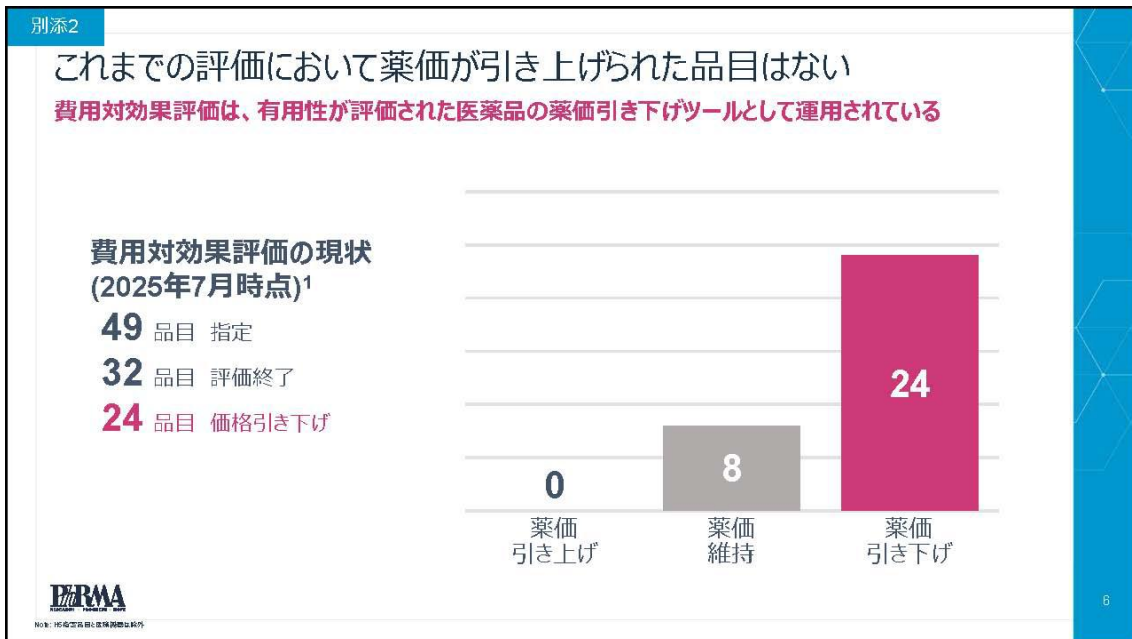


「別添1」になりますが、費用対効果評価の償還の可否に使用している国、オーストラリア、カナダ、韓国、例えば英国では、新薬の上市の数は少ない傾向になっています。

それらの国々では、薬事承認を受けても保険償還されない医薬品が多く存在しております。

そして、費用対効果評価の実施は、新薬の薬事承認から保険償還までの日が長くなってしまい、更なるドラッグラグ・ロス状況になると考えております。つまり、アクセス・ 이슈が起きているということになります。





また、「別添2」のとおり、これまで日本の費用対効果評価制度において、価格の引き下げは多く起きているものの、引き上げにつながった事例はないと。

よって、日本は本制度を特許期間中における革新的医薬品の有用性系加算部分を対象とした薬価引き下げ手段として利用していると受け止めております。

その結果、市場の予見可能性を低下させる1つの要因になっていると懸念しております。



別添3

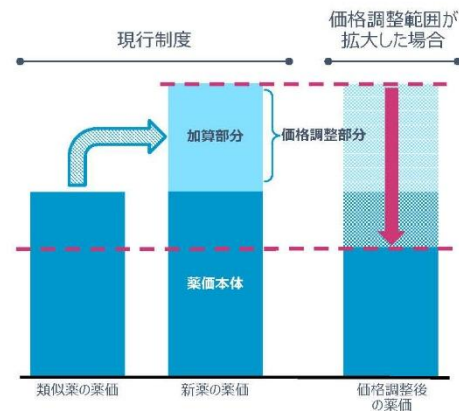
## 薬価制度との整合性の確保

### 価格調整範囲の拡大は、イノベーションの阻害につながる

#### 価格調整範囲が拡大した場合

- 薬価制度との矛盾が生じる
  - 価格調整範囲の拡大により、新薬の価格が薬価本体や類似薬の薬価を下回る可能性がある。
  - 有用性系加算が付与された革新的な医薬品ほど、価格引き下げが厳しき、既存薬よりも価格が下がる。
  - 費用対効果評価で用いられる比較対照薬と薬価算定で用いられる類似薬が異なる場合、更なる不整合が生じる。（費用対効果評価指定品目のうち68.2%で、薬価算定時とは異なる比較対照薬が選定された。）
- 原価計算方式においては、薬価が製造原価よりも低くなる可能性がある。

日本市場の魅力の低下やドラッグラグ・ロスを悪化を招く恐れがあるため、価格調整範囲は拡大すべきではない。



PhRMA 2015年10月 2025

7

日本政府は費用対効果評価制度の拡大を検討しておりますが、「別添3」のとおり、

薬価制度の評価より付与されたインセンティブが費用対効果評価制度の拡大により削減されることで、新薬の価格がですね、薬価本体や、もしくは類似薬の薬価を下回る可能性も予測され、既存の薬価制度との矛盾が生じることを危惧しております。

## 費用対効果評価制度のリスクと課題

費用対効果評価制度は、ドラッグ・ラグ/ロスの状況を悪化させないためにも、有用性系加算の評価と価格調整を行う現在の活用範囲を維持すべきである



世界において、価格決定や償還の可否判断に**費用対効果評価**を使用している国では、**革新的な医薬品への患者さんのアクセスが悪化**している。（別添1）



日本は、特許期間中における**革新的医薬品の有用性系加算部分**を対象とした価格引き下げ手段として、**費用対効果評価**を利用しており、その結果、市場の予見可能性を低下させている。（別添2）



日本政府は、費用対効果評価制度の拡大を検討しているが、**これにより薬価制度の予見可能性がさらに低下し**、薬価制度において慎重な評価により**付与されたインセンティブが不合理に削減されることになる**。（別添3）



2025年5月に米国トランプ大統領は、「公正な市場価格よりも低い価格で他国で販売されることを抑制する」ことを目的に、最恵国待遇薬価の導入に関する大統領令に署名した。本政策において、日本が参照国となる可能性があり、**企業が日本での特許期間中の薬価引き下げが米国での価格に波及することを懸念し、日本への新薬導入に慎重になることで**、ドラッグ・ラグ/ロスの悪化するリスクが大きく高まる恐れがある。



2

さらに、今年5月に米国トランプ大統領は、最恵国待遇薬価の導入を目指す旨の大統領名に署名いたしました。

導入により日本が参照国になった場合、特許期間中も低下する日本の薬価が米国の薬価に影響するため、日本への新薬投入ですね、慎重になるということも懸念されます。

次は、資料3ページ。次のスライドをお願いいたします。

2026年度費用対効果評価制度改革に対する要望	
現行制度の課題	改革の要望
<b>制度拡大による特許期間中の価格引き下げリスクの高まり</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>費用対効果評価制度は、特許期間中の価格引き下げのメカニズムとして利用されている。</li> <li>価格調整の範囲を拡大することにより、現行の薬価制度との矛盾が生じかねない。</li> </ul>	<b>特許期間中の薬価を維持し制度拡大を行わない</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>現行の価格調整範囲や対象品目を拡大すべきでない。</li> <li>本制度を保険償還の可否判断に使用すべきでない。</li> </ul>
<b>分析および運用に関連した複数課題の特定</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>現行制度下において複数の分析方法、運用法に関する課題が特定されている。(ICERで評価できない価値に対する対応、比較対照技術の設定、不確実性に対する対応など。別添4-8)</li> </ul>	<b>現行の制度における課題の改善</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>制度拡大の議論をする前に、業界が指摘している分析や運用の課題は改善されるべきである。(総合的評価では不確実性の高いICERの値だけでなく、臨床や統計の専門家の意見を含む複数の要素を考慮すべきである。別添4-8)</li> </ul>
<b>現行の制度に関する客観的な検証が実施されていない</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度骨太の方針において、“費用対効果評価の更なる活用の在り方について、医薬品の革新性の適切な評価も含め、検討する”と明記されたが、検討されていない。</li> </ul>	<b>2025年度骨太の方針に基づく客観的な検証の実施</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>分析、運用に関する客観的な検証が不可欠である。客観的な検証は、過去の分析結果や専門組織の議事録に基づき、医療経済学者、対象品目の疾患を専門とする臨床医、患者、統計学者を含む第三者の専門家によって実施されるべきである。</li> </ul>

以上のリスクをです、分析した上で、2026 年度費用対効果評価制度改革に対する要望をお示いたします。

1 目です。

制度改革には、特許期間中の価格引き下げリスクに関してですが、特に特許期間中の薬価に対しては、費用対効果評価制度の価格調整範囲や対象品目を拡大すべきではなく、さらには本制度を保険償還の可否判断には使用すべきでないと主張させていただきます。

2 目です。

現行制度下における分析方法、運用法に関する課題を「別添 4」から 8 に示しております。

## 別添4

## ICERで評価できない価値への対応

費用対効果分析のみでは、評価しきれないイノベーションが存在する

## PhRMAが考える現行制度の課題

- **利便性等の有用性はQoL値**、例えばEQ-5D-5L（移動の速度、身の回りの管理、ふだんの活動、痛み/不快感、不安/心配）<sup>1)</sup>では十分に評価できない。

薬価算定時に治療方法の改善（利便性、標準的治療法、侵襲性の軽減等）が評価された品目<sup>2-15</sup>[illegible]

### 検討いただきたい事項

- QoL値で評価できない有用性（利便性等）は、総合的評価で配慮していただきたい。

[illegible]

## 別添5

## 比較対照技術の選定

比較対照技術は一つを選ばざるを得ないため、臨床実態とかけ離れた薬剤が選ばれる場合がある

## PhRMAが考える現行制度の課題

- 分析ガイドライン上では以下の記載があり、**比較対照技術は一つ選定すること**になっている<sup>1</sup>。
- 評価を行う際の比較対照技術は、評価対象技術が分析対象集団への治療として導入された時点で、臨床的に幅広く使用されており、評価対象技術によって代替されると想定されるものとする。うち、治療効果がより高いものを一つ選定することが原則的な考え方である（4.1項）。
- 比較対照技術の候補が複数ある場合、一つを選ぶことにより、**臨床実態とかけ離れた薬剤**が選定された事例が散見される<sup>2-3</sup>。
- マンジャロの場合、比較対照技術は「GLP-1受容体作動薬注射剤のうち最も安価なもの」として、リクスマが選択された<sup>2</sup>。同薬剤の市場シェア（当時）は1%未満<sup>4</sup>であり、これは実臨床を反映しているとは考えがたかった。また、25年3月に販売中止となり<sup>5</sup>、既に実臨床から完全に消失した技術との比較をもってマンジャロの費用対効果が評価された状態にあり、前述の観点より、更に実臨床から乖離したと言える。

## 検討いただきたい事項

- 新薬により置き換わる比較対照技術が複数ある場合、臨床実態に沿って複数の技術を選んでICERを算出し、これらの結果を総合的に評価して、意思決定に反映させることを検討いただきたい。



Source: 1) [https://zh.nhan.go.kr/tci/selfguideline/guideinfo\\_0\\_2024.pdf](https://zh.nhan.go.kr/tci/selfguideline/guideinfo_0_2024.pdf); 2) [https://zh.nhan.go.kr/prestest/C27212C2720212\\_Summary.pdf](https://zh.nhan.go.kr/prestest/C27212C2720212_Summary.pdf); 3) <https://www.jaistlab.jp/papers/20240316/>; 4) <https://www.relxing.go.jp/content/1240400U010189436.pdf>; 5) [https://www.m-sano.co.jp/damian/43062-3e3ef6-4d6c-468f-b636330228c9y\\_jmo2024\\_03.pdf](https://www.m-sano.co.jp/damian/43062-3e3ef6-4d6c-468f-b636330228c9y_jmo2024_03.pdf). 2022年3月28日截止(GLP-1受容性抗体検査回数: 45,678回)





## 別添8

## 統計学的な解釈

統計的な有意差が認められていない場合、データの取り扱いには丁寧な議論が必要である

### PhRMAが考える現行制度の課題

- 分析ガイドライン<sup>1</sup>では、データソースについて以下の記載がある。
  - ・ 評価対象技術と比較対照技術における値の差の有無が結果に大きな影響を与えるパラメータについて、**統計学的に有意な差が認められていない場合は、両群で同じ値を用いることを原則とする**（9.4項）。
- **分析対象集団を分けた場合、検出力が低下し、統計学的な有意差を示しにくくなる。**
- ノキサフィルの費用対効果評価における専門組織において、以下の指摘がある<sup>2</sup>。
  - ・ 特に統計学的仮説検定において、**有意差がないから同じにしようというのは明らかに統計の誤用**という形にもなりますので、有意差がない、優越性が示されていないということで、併合した解析をするのであれば、少しガイドラインの見直し等も含めて検討すべきなのかなとは考えています。

### 検討いただきたい事項

- **統計学的な有意差が認められていない場合、その他の要素（統計や臨床専門家の見解等）も加味して判断いただきたい。**



Source: 1) [https://www.phrma.org/assets/medwatch/1112/1112\\_001.pdf](https://www.phrma.org/assets/medwatch/1112/1112_001.pdf); 2) [https://www.nhk.or.jp/chuohwa/2020/04/20200420\\_001.html](https://www.nhk.or.jp/chuohwa/2020/04/20200420_001.html)

12

PhRMA として、複数の項目を特定しており、その改善が必要かと考えております。

2026年度費用対効果評価制度改革に対する要望	
現行制度の課題	改革の要望
<b>制度拡大による特許期間中の価格引き下げリスクの高まり</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>費用対効果評価制度は、特許期間中の価格引き下げのメカニズムとして利用されている。</li> <li>価格調整の範囲を拡大することにより、現行の薬価制度との矛盾が生じかねない。</li> </ul>	<b>特許期間中の薬価を維持し制度拡大を行わない</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>現行の価格調整範囲や対象品目を拡大すべきでない。</li> <li>本制度を保険償還の可否判断に使用すべきでない。</li> </ul>
<b>分析および運用に関連した複数課題の特定</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>現行制度下において複数の分析方法、運用法に関する課題が特定されている。(ICERで評価できない価値に対する対応、比較対照技術の設定、不確実性に対する対応など。別添4-8)</li> </ul>	<b>現行の制度における課題の改善</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>制度拡大の議論をする前に、業界が指摘している分析や運用の課題は改善されるべきである。(総合的評価では不確実性の高いICERの値だけでなく、臨床や統計の専門家の意見を含む複数の要素を考慮すべきである。別添4-8)</li> </ul>
<b>現行の制度に関する客観的な検証が実施されていない</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度骨太の方針において、“費用対効果評価の更なる活用の在り方について、医薬品の革新性の適切な評価も含め、検討する”と明記されたが、検討されていない。</li> </ul>	<b>2025年度骨太の方針に基づく客観的な検証の実施</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>分析、運用に関する客観的な検証が不可欠である。客観的な検証は、過去の分析結果や専門組織の議事録に基づき、医療経済学者、対象品目の疾患を専門とする臨床医、患者、統計学者を含む第三者の専門家によって実施されるべきである。</li> </ul>

3つ目です。

昨年度の骨太の方針において、費用対効果評価の更なる活用の在り方について、医薬品の革新性の適切な評価も含め、検討する旨が記載されていましたが、実際には昨年度、検討されていないと認識しています。

本年の骨太の方針においても、「客観的な検証を踏まえ」といった具体的な検証の必要性について明記されております。

ぜひ医薬品の革新性の適切な評価を含め、課題として挙げました分析、運用法に関して、過去の分析結果や専門組織の議事録に基づき、医療経済学者、対象品目の疾患を専門とする臨床医、患者、統計学者を含む第三者の専門家によって透明性をもって「客観的な検証」がされることを強く望みます。

私どもの提案の背景と更なる内容の詳細は別添の資料にまとめておりますので、ぜひそちらをご覧くださいと思います。

ありがとうございました。



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

中医協 費-5  
7. 8. 6

## 費用対効果評価制度に対する意見












2025年8月6日  
欧州製薬団体連合会




○城山英明部会長代理（東京大学大学院法学政治学研究科教授）

はい。続いて同じく米国研究製薬工業協会ヴァイスプレジデントのハニンジャー様からよろしくお願いいたします。よろしいですか。すいません、こちらのほうの手違いかと思えます。それでは、続いて欧州製薬団体連合会の青野理事長、よろしくお願いいたします。

○欧州製薬団体連合会・青野吉晃理事長

皆さま、おはようございます。欧州製薬団体連合会、EFPIA Japan 理事長を務めます青野と申します。本日はこのような発言の機会を与えていただき、感謝申し上げます。ありがとうございます。

私どもは日本で活動いたします、主にヨーロッパに本拠を置く研究開発型の製薬企業 25 社から構成される団体でございます。

本日は費用対効果評価制度につきまして、分析対象品目を有する会員企業の声も踏まえまして、私どもの考えを述べさせていただきます。どうぞよろしくお願いいたします。

それでは、次のスライドお願いいたします。



### 費用対効果評価制度に係るEFPIAの考え方

2024年度薬価制度改革は、革新的新薬の迅速な日本導入に向けた前向きな第一歩であり、海外本社に対して日本への投資を訴える後押しとなるものであった

一方で、現行の費用対効果評価制度は、分析プロセスや評価の妥当性に課題があり、またイノベーション推進の施策とは整合しない仕組みであることから、早急な改善が必要と考える

費用対効果評価制度の更なる活用に関する議論の前に、上記の課題・施策上の不整合について客観的な検証を行った上で、適切な評価手法の確立に向けた必要な見直しを行う必要があると考える。



先日の薬価専門部会における意見陳述におきましても、お話しさせていただきましたように、2024年度の薬価制度改革におきましては、新薬開発を行うわれわれにとりまして後押しとなる前向きな改革を行っていただいたと考えております。ありがとうございます。

一方で、運用開始から6年を経過しました、この費用対効果評価制度ですが、過去に指定を受けた品目を見ましても、分析プロセスや運用の面、また評価結果の妥当性など、多くの課題があるというふうに認識をしております。

つきましては、私どももまた、費用対効果評価の更なる活用に関する議論の前に、まずは「客観的な検証」を行うことが必須であると考えます。

その上で、適切な評価手法の確立に向けた検討をいただきたく、お願いを申し上げます。

次のページをお願いいたします。

## **現行の費用対効果評価制度に対する評価の中立性／透明性に関して、 客観的な検証と改善が最優先である**

### **【Ⅰ】分析面での課題**

- i. 比較対照治療の選定等における臨床コンセンサスとの乖離
- ii. 薬事承認・薬価収載時の評価、データ解釈との乖離
- iii. 海外HTA機関での分析、既報文献等と異なる分析
- iv. 国内HTAでの先行品目で示された分析枠組み設定の際の優先順位・分析手法・結果との一貫性

### **【Ⅱ】運用面での課題**

- i. 企業分析時点では必要なデータが十分に揃わないこと
- ii. 頑健なエビデンスが無く不確実性が残る場合に、過度に保守的な（ICERを高くなることを優先した）決定がなされ、医薬品の価値が過小評価される傾向
- iii. NDBデータ解析の透明性
- iv. 十分な評価プロセスの時間及び双方向議論の確保
- v. 患者さんの更なる参画

**企業及び臨床専門家や学会、患者会等からの聞き取りも含め  
 客観性を担保するためにも多角的に検証を行うべき**



こちらは、費用対効果評価の指定を受けた品目を有する該当企業からの意見を参考にし、分析面と運用面での課題を提示をしております。

現行制度におきまして、分析面、例えば比較対照治療の選定等において臨床コンセンサスとの乖離が生じている事例があること。

また、運用の面におきましても、企業分析の提出時に必要なデータを揃えられないことや、また公的分析側との議論の場が必ずしも十分に与えられていない。

そういったように、さまざまな観点から問題意識を持っております。

これら分析面や運用面での課題を解消すべく、今一度、当該企業および臨床専門家の先生方、各学会、また患者会から等、聞き取りも含めまして客観性を担保すべく、多角的に分析結果の検証を行うべきと考えます。

次のページをお願いいたします。

## 費用対効果評価制度に関する提言

現行の費用対効果評価制度のあり方を客観的に検証するとともに、薬価制度におけるイノベーション評価の仕組みと整合する制度とすべき

### 具体要望事項：

- ＊ 評価の中立性／透明性に関する客観的な検証と改善が最優先である。
- ＊ 今後も、新薬のアクセス及びイノベーションの阻害につながらない仕組みとすべき。

### EFPIAの考える費用対効果評価制度に必要な要素

分析プロセスの更なる改善と科学的妥当性／透明性の向上	新薬へのアクセス阻害の回避	イノベーション推進等の薬価制度との整合性
<ul style="list-style-type: none"> <li>＊ 分析における比較対照の選定や分析プロセス、評価の中立性／透明性を改善すべき</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>＊ 患者さんの新薬へのアクセス阻害とならないように、保険償還可否判断に用いるべきではない</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>＊ 薬価算定時の考え方と異なる引下げ等、開発促進の施策に逆行しないようにすべき</li> <li>＊ 価格調整範囲が薬価本体に割り込むことは、薬価制度との整合性を欠くため、行うべきではない</li> </ul>



こちら、最後のスライドとなります。ここまで述べさせていただきました「客観的な検証」を最優先にした比較対照の選定や分析プロセスなど、評価の中立性・透明性の向上に加えまして、今後の費用対効果評価制度の見直しに向けて、ご検討をお願いしたい点を記載しております。

それは、革新的な新薬を患者さんが待ち望んでおられることを踏まえ、それが私どもの使命でもございますけれども、今後も新薬のアクセスおよびイノベーションの阻害につながらない仕組みとしていただきたいということでございます。

具体的には、下の真ん中。まず保険償還可否判断にこれを用いるべきではないと考えます。

そして、右側。薬価制度を補完する制度という本来の趣旨からも、費用対効果評価結果による価格調整範囲の薬価本体への拡大は行うべきではないと考えます。

また、2024年度のイノベーションの推進を後押しした薬価制度との整合性が必要でして、新薬開発促進の施策に逆行しないように、ぜひお願いを申し上げます。以上です。ありがとうございました。