

質疑

医薬品・医療機器業界の意見について

○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）

一通りのご説明をいただきましたので、これより質疑に移りたいと思います。
どなたからでも。はい、江澤委員、お願いします。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

はい。いろいろ、ご説明ありがとうございました。まず資料に沿って、いくつか
ご質問させていただきます。

まず資料1（ママ）の3ページでございますが、右側の所ですけれども、「価格調整
における柔軟な配慮の在り方に加えて対象除外の条件についても十分議論いただきたい」ということなんですけれども、

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】

（価格調整における配慮について）

- 現行、治療法が十分に存在しない疾患（指定難病）、小児および悪性腫瘍に対する適用のある品目については、配慮が必要な対象に該当するとして、異なる閾値を用いている。
- 一部の国では、疾患等の重症度の評価手法であるshortfall法などを用いて、現行のわが国の制度よりも柔軟に評価品目ごとに閾値を変えるなどの対応を行っている。

【対応案】

- 現在がんや小児を対象とした医薬品等の価格調整における配慮について、諸外国における取扱等を参考に、価格調整における配慮の在り方を検討してはどうか。

□ 希少疾病用医薬品など患者数
が少ない疾患等に対する品目
の取り扱いも含め、**価格調整に
おける柔軟な配慮の在り方に
加えて対象除外の条件につい
ても十分議論**いただきたい。

3

これは具体的に何か、お考えがあるのかどうか教えていただければと思います。

続きまして、同じく資料1（ママ）の5ページの右の3つ目のポツですけれども、「比較対照技術を含む分析枠組みの設定によって追加的有用性の有無が大きく変動しうること」は十分理解しておりますけれども、

詳細

A 分析方法に関する事項（4）その他

意見	
<p>・追加的有用性がなく費用増加となつた品目について、現行では価格調整後の価格によるICERと閾値の乖離が大きく、費用対効果評価の結果を十分に反映できていないのではないか。</p>	<p>□ 追加的有用性がなく費用増加となつた品目の取扱いに関しては以下のとおり。</p> <ul style="list-style-type: none">・薬事承認や薬価算定で認められた「有用性」と、費用対効果評価における「追加的有用性」は評価の目的や基準が異なり、単純に比較すべきものではない。・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である。・なお、比較対照技術を含む分析枠組みの設定によって追加的有用性の有無が大きく変動しうることに留意し、総合的な観点から追加的有用性の有無を判断すべきである。

5

「総合的な観点から追加的有用性」、すなわち有効性・安全性・QOL等だと認識しておりますが、総合的な観点からの追加適用性の有無の判断について、ちょっと、ご説明をいただければと思います。

続きまして、資料2（ママ）につきまして、7ページに臨床実態との整合性がまず出ておりまして、市販後の臨床調査等、いろいろありますけれども、このあたりはどのように、こう、担保、特に有効性、

あの、安全性はかなり市販後調査で管理されてると思いますけれども、あるいは市販後の臨床実態で、どういった形で有効性を評価、担保していくのか。

また、中ほどに「不確実性が高い」というの、ありますけれども、この「不確実性が高い」ことについての何か対応をお考えがあれば、教えていただきたいと思います。

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

- 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
- 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

不確実性が高い分析結果の取扱い

- 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
- 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
- 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

品目指定の除外基準など

- 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
- 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
- 追加的有用性の判断基準は明確か
また、一貫しているか
- 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

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

また、同じく資料の10ページに、「定量的分析に反映されない価値要素も考慮する」とありますが、この「価値要素」とは何を指しているのか、教えていただければと思います。

B 新たな制度に向けて
2.「適切な評価手法」に関する提案
課題解決につながる「適切な評価手法」を提案したい



提案

臨床実態と乖離しない
分析枠組みとする
臨床実態が反映された
データを分析で考慮する

定量的分析に反映されない
価値要素も考慮する

分析

総合的評価

意思決定

価値評価プロセス

実臨床を反映した分析

臨床的、社会的、経済的及び
倫理的な観点からの総合的評価

医療政策上の
合理的な
意思決定

10

続きまして、資料3（ママ）については、後段の8ページ以降にICERに関する見直しがいろいろ、資料が添付されておりますけれども、

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/ふさぎ込み）¹⁾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²⁾⁻⁵⁾

品目名	薬価算定時の加算根拠	品目名	薬価算定時の加算根拠
テリジー	利便性 3成分を1回で吸入可能	レクビオ	利便性 投与間隔の緩長
ユレニス	効果の持続性 注射の頻度が1/4	エピキンリ	標準的治療法 海外ガイドラインで標準的療法
リペニス	侵襲性の低減 注射一回で投与	レブロカル	標準的治療法 海外ガイドラインで標準的治療法
ボライバー	標準的治療法 NCCNガイドラインで推奨レシメン	エリレニオ	標準的治療法 海外ガイドラインで標準的療法
アケイヌ	標準的治療法 案件がガイドラインで標準的治療	ブリビアクト	利便性 断續期間及び增量間隔の規定がない
タラキーロ	利便性 投与時間が大幅に短縮	ケンラ	利便性 投与間隔の緩長
バドセフ	標準的治療法 ガイドラインで標準的治療法	アフィクリ	利便性 注射頻度の減少
ジスパル	標準的治療法 運営性リスクナシ治療薬として日本初	イムドトラ	標準的治療法 国内ガイドラインで推奨
ラグナリオ	標準的治療法 利便性		
	利便性 注射剤一経口剤		

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。

PhRMA

Source: 1) <http://www.mhlw.go.jp/stf/seisaku-0000124140000/0054828.pdf> 2) <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisaku-0000124140000/0054822.pdf> 3) <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisaku-0000124140000/0054825.pdf> 4) <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisaku-0000124140000/0054827.pdf> 5) <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisaku-0000124140000/0054826.pdf>

8

海外では、ICERの不足量とか不足割合とか、いろいろ工夫はされていると思いますけれども、何か、我が国の今のICERによる費用対効果の評価について何かお考えがあれば、教えていただければと思います。

最後に資料5（ママ）でございますが、確かに医療機器は当然、RCTが実施できることとは十分認識しておりますけれども、

4ページにありますように、一定程度はRCTを行って保険収載されているものもありますし。

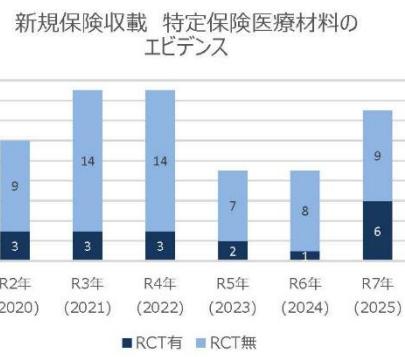
大事なのは、国民・患者さんに対する有効性・安全性の担保だと思いますけれども。

医療機器の臨床試験/RCTを求められないことが多い

- 「新医療機器」と「改良医療機器（臨床あり）」は年26~59品目程度で、年103~155品目ある**新医薬品の1/3程度**
- 「改良医療機器（臨床なし）」と「後発医療機器」は年323~485品目で、臨床ありの10倍近く
- 特定保険医療材料としてRCTの結果をもって評価されているものは1/5程度
- 保険申請では**RCT以外のデータ（単群試験、レジストリ、文献等）**で加算評価されることが多い



出所：PMDA 業務実績報告書（令和元年度、令和6年度）数値データ集



出所：中医協総会資料 医療機器の保険適用より集計

4

RCTが難しいのであれば、どういったことで評価を担保していくのかということが、何か追加的にコメントがあれば、お願いしたいと思います。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。どうもありがとうございます。ご質問ということなので、ご回答をお願いしたいと思いますが、今、ご説明いただいた、これ、資料番号、たぶん、元のバージョンの資料番号ですよね？

何か、1個1個、追加されているので、たぶん。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

すいません。はい。

○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）

ずれてるので。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

申し訳ございません。

○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）

ちょっと足していただければいいと思うんですが。それから資料・・・

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

1つずつ、ずれているんですか。

○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）

1・2・3・5と言われましたけど、

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

すいません。

○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）

たぶん、2・3・4・6ですね。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

はい。

○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）

ということで、ご回答いただければと思いますが、はい。それでは、お願いします。まず宮柱様からでしょうかね。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

申し訳ございません。まず1つ目のご質問のところが、資料の2の。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

そうですね、はい。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

こちらですかね。ここの、われわれの意見と3団体の意見として、「希少疾病用医薬品など患者数が少ない疾患等に対する品目の取り扱いも含め、価格調整における柔軟な配慮の在り方に加えて対象除外の条件についても十分議論いただきたい」、この具体例が何かあるかというご質問という理解で・・・

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	
<p>【現状および課題】 (価格調整における配慮について)</p> <ul style="list-style-type: none">現行、治療法が十分に存在しない疾患(指定難病)、小児および悪性腫瘍に対する適用のある品目については、配慮が必要な対象に該当するとして、異なる閾値を用いている。一部の国では、疾患等の重症度の評価手法であるshortfall法などを用いて、現行のわが国の制度よりも柔軟に評価品目ごとに閾値を変えるなどの対応を行っている。 <p>【対応案】</p> <ul style="list-style-type: none">現在がんや小児を対象とした医薬品等の価格調整における配慮について、諸外国における取扱等を参考に、価格調整における配慮の在り方を検討してはどうか。	<p>□ 希少疾病用医薬品など患者数が少ない疾患等に対する品目の取り扱いも含め、価格調整における柔軟な配慮の在り方に加えて対象除外の条件についても十分議論いただきたい。</p>

3

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

「対象除外の条件」について、何かお考えがあれば教えていただきたいと思います。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

ありがとうございます。こちらはですね、今、何か具体的なっていうところはございませんが。

ございません。ちょっと、こちらはフォローアップさせていただきたいなというふうに思います。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

はい。ありがとうございます。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

もし、あれば。はい。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい。今のご質問なんですけれども、例えば希少疾患でありますと、SMA治療の「ゾルゲンスマ」があるかと思います。

その場合ですと、今はハードストップがかかっていて、やはり、その患者さんの数が少ないということで、やっぱり、その計算であったり、HTAに耐えうるものではないと思うんですね。

そうすることを考えますと、例えば、リアルワールドエビデンスを活用するとか、いろいろな、まだ、ほかの手法があるんじゃないかなというところを柔軟に、今後、お考えいただければいいのかなと思っております。

○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。じゃ、続けて、まず今の点、よろしいですか。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

了解いたしました。

○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）

では続けて、2つ目の点ですね。5ページ目の総合性の観点でしたっけね。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

はい。不確実性のところのご質問という理解で回答させていただきます。

申し上げましたとおり、現行・・・

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

すいません、5ページの、すいません、資料番号が間違ってて。ややこしくて申し訳なかったんですけども、

詳細

A 分析方法に関する事項（4）その他

意見

- 追加的有用性がなく費用増加となった品目について、現行では価格調整後の価格によるICERと閾値の乖離が大きく、費用対効果評価の結果を十分に反映できていないのではないか。

- 追加的有用性がなく費用増加となった品目の取扱いに関しては以下のとおり。
 - 薬事承認や薬価算定で認められた「有用性」と、費用対効果評価における「追加的有用性」は評価の目的や基準が異なり、**単純に比較すべきものではない。**
 - 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**が必要である。
 - なお、**比較対照技術を含む分析枠組みの設定**によって追加的有用性的有無が大きく変動しうることに留意し、総合的な観点から追加的有用性的有無を判断すべきである。

5

資料2の5ページの総合的な観点からの追加的有用性の有無ということで、ここあたりで何か、具体的な案があるのかどうかを教えていただければという質問でございます。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

はい。こちらに関しては、追加的なですね、有用性の有無ということで挙げさせていただきましたが、やはり現行制度では単一なICER、で、値によって評価、そして調整がされるというふうな状況にございます。

やはり先ほど申し上げましたとおり、社会的・経済的価値ですね。そこには反映されていない定性的な価値も含めて「追加的有用性の有無」というものを評価していくことが重要ではないかというふうに考えております。

そちらを総合的に、いわゆる評価の段階で、分析は分析ですけども、評価の段階で加味するっていうところを挙げさせていただいております。

○米国研究製薬工業協会・ヴァイスプレジデント・ケビン・ハニンジャー氏(通訳)

このようなアセスメント評価をするというのは、この、ディスカッションして審議する機会を与えてくれることになるかと思います。

つまり、今まで使ってきた分析以外のほかの側面でありまして、その製品によつてもたらされる価値ということを十分に検討されていなかつた部分に関しても、さらに検討する機会となると思います。

そういうことは結局、その患者様に対して、どういうベネフィットがあるかというような、ICERだけでは把握できなかつた、そういった、いろいろな医療制度にもたらすメリットとか、

そういったことも、ICERだけで把握できなかつたことも、その検討する機会になりますし、

あるいは、どういった不確実性があつたのかというようなことも検討できますので、それによりまして、日本の患者様等に対して、より良い意思決定を究極的にするということに貢献できると思います。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

あと、別添のですね、資料ですね、これは、米国製薬企業のものなんんですけども、「別添7」、ページでいうと11になるんですけども。

別添7

ICERの基準値に基づく意思決定

不確実を伴うICERの基準値を用いて、価格調整率を機械的に決定するのは日本だけである

PhRMAが考える現行制度の課題

- ICERの値は、分析に用いるパラメータの情報源の選択や数値の精度によって、**不確実性が生じる**¹。
- 日本では、ICERの基準値（500万円、750万円、1,000万円/QALY）²が設定され、費用対効果分析で得られた**ICERの値が基準値を超えるかどうかで、価格調整率が機械的に決定される**。
- 費用対効果評価を行っている海外諸国においては、**ICERの値のみに基づく意思決定は行われていない**^{3,4}。
 - 海外諸国で実施されている総合的評価（アブレイザル）において、ICERの値だけでなく、データの不確実性に対する解釈、医療ニーズなどを複数の立場のステークホルダーと共に結論を出している。

検討いただきたい事項

- **ICERの値以外の要素も加味して、総合的に意思決定する仕組みを検討いただきたい。**

こちらが今、われわれが考えている I C E R の基準に基づく意思決定ということで、先ほど、今、ケビンが申しましたように、不確実性を伴う I C E R 基準を用いて価格調整率を機械的に決定するのは残念ながら日本だけであるということになりますので、

そういうところも含めて、総合的に柔軟な判断というのをぜひしていただきたいというものでございます。

○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。まず 2 点目についてはいかがですか。いいですか？

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

あと、質問させていただいたのが、資料 3 の、

○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）

3 つ目の点ですね。7 ページの。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

7 ページですと、あと 10 ページについて。

○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）

そうですね。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

コメントあれば、お願いしたいと思います。

○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。じゃ、それは宮柱さんのはうから。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

資料 3 の・・・

○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）

資料 3 の 7 ページと 10 ページですかね。

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

- 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
- 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

不確実性が高い分析結果の取扱い

- 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
- 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
- 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

品目指定の除外基準など

- 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
- 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
- 追加的有用性の判断基準は明確か
また、一貫しているか
- 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

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

B 新たな制度に向けて
2.「適切な評価手法」に関する提案
課題解決につながる「適切な評価手法」を提案したい



提案

臨床実態と乖離しない
分析枠組みとする
臨床実態が反映された
データを分析で考慮する

定量的分析に反映されない
価値要素も考慮する

分析

総合的評価

意思決定

価値評価プロセス

①

実臨床を反映した分析

②

臨床的、社会的、経済的及び
倫理的な観点からの総合的評価

医療政策上の
意思決定

10

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

申し訳ございません。どの部分に対する・・・

○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）

7ページが・・・、

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

この「検証項目案」というスライドでよろしいですか？

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

すいません、じゃ、質問、口頭で申し上げますけれども、市販後の臨床実態とそぐわないというところだと思うんですけれども、市販後にこう、安全性はともかく有効性をどのように担保できるか、何か手法があるのか、お考えがあるかということと、不確実性が高いことに対しての何かご対応とか要望があるのかということと、

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"> □ 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 □ 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 	<ul style="list-style-type: none"> □ 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 □ 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、機械的価格調整になっていないか □ 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 	<ul style="list-style-type: none"> □ 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/AIDS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 □ 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 □ 追加的有用性的判断基準は明確か また、一貫しているか □ 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

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算出のための指標) 7

B 新たな制度に向けて 2.「適切な評価手法」に関する提案
課題解決につながる「適切な評価手法」を提案したい

提案

臨床実態と乖離しない分析枠組みとする 臨床実態が反映されたデータを分析で考慮する	定量的分析に反映されない価値要素も考慮する
<p>分析</p> <p>① 実臨床を反映した分析</p>	<p>総合的評価</p> <p>② 臨床的、社会的、経済的及び倫理的な観点からの総合的評価</p>

価値評価プロセス

意意思決定
医療政策的な
決定

10

最後のページの「定量的分析に反映されない価値要素」という言葉があるんですけど、この「価値要素」とは何を指しているのかということで、ご質問しました。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

ありがとうございます。市販後の臨床試験の、市販後臨床試験等のデータも活用できると思いますが、こちらはどういったデータを使っていくか、そして分析をしていくかっていうのは議論が必要な部分というふうに捉えております。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

1個、具体的なところで申し上げて・・・

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

現行制度に、先ほどから申し上げましたとおり、その原則として単一の I C E R の値によって調整価格が決定されるという現状がありますので、このような定量的な分析で捉えられない価値要素ということをですね、総合的に評価の議論の中で、定性的に考慮できる仕組みというものを提案をさせていただいております。

今、I C E Rの中でもQ A L Yといいうもので見ておりますが、ここでは捉えきれない要素というのがございまして、例えば、患者さんの利便性の改善であったり、疾患によってのアンメット・メディカル・ニーズの高さ。

そして、この、いわゆる疾患治療に関わるステークホルダーの皆さまのご意見も含めてですね、臨床実態の中でどういった、その医薬品の価値を総合的に評価すべきなのかというところを、も、議論をしたいというふうに考えております。

もし、追加で何かあれば。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい。あとタイミングのところなんですけれども、安全性であったり、有効性のところですけども、やはり最初の承認を受けてからですね、モノが出た場合というのは、基本的にデータのリミテーションがありますし、基本的に限られてございまして、それをどうやって判断すればよろしいのかっていうところも1つの、何て言うんですかね、こう、大事なポイントだと思いますんで。

ある程度の、やはり分析に耐えうる、やはりデータの数も、N数といいますか、そういういたものも、やはり考慮いただきながら考えていく必要があるのかなと思います。

ただ、考慮する前にですね、やはり私どもが申し上げてるのは、今までHTAでアセスメントいただいた製品をもう1回ですね、振り返って、ほかのアセスメントの要素を入れるとどうなるんだろうというところを含めてですね。

前に進む前に、一度、止まって、今までの計算のやり方が本当に正しかったのかというのは1回、検証いただくということをですね、切にお願いしたいと思っております。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

引き続き、また具体的な提案があれば、よろしくお願いしたいと思います。

○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）

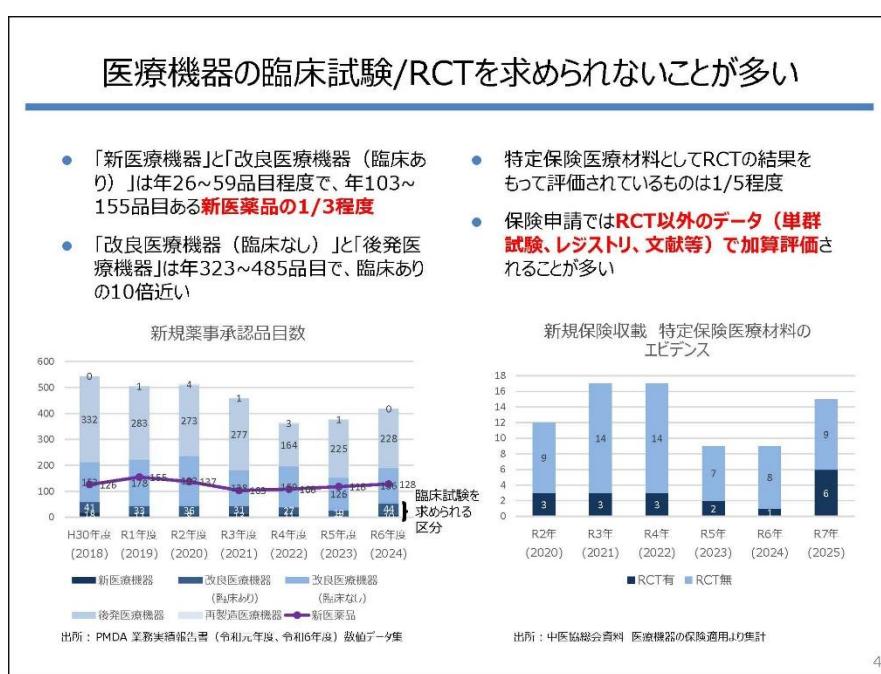
では、資料4のICERのところまで、よろしいですかね。医療機器の、

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

医療機関の、はい。

○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）

RCTの話ですかね。いかがでしょうか。



○米国医療機器・IVD 工業会保険委員会・鴨川幸子委員長

はい。ご質問ありがとうございます。AMDDでございます。まず、RCTが対象として費用対効果評価することに対しては、私ども、はい、同意しております。

逆に、RCTがない場合について、先生のご質問はそれ以外のやり方で何かできないのかということでおろしかったでしょうか？

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

はい。RCTができるのであれば、その代わりに担保する評価手法というのは何かお考えがあるかということでございます。

○米国医療機器・IVD 工業会保険委員会・鴨川幸子委員長

ありがとうございます。まず、現在の費用対効果評価のガイドラインによりますと、例えば、単群データしか存在しない場合はマッチングで調整された間接比較ですとか、ネットワークメタアナリシスなどによって有効性を示すというようなことが書かれております。

5.6 單群試験しか存在しない場合は、評価対象技術と比較対照技術それぞれについてのSRに基づき、間接比較を実施する。

5.7 間接比較を行う場合、以下を原則とする。

5.7.1 個人レベルのデータを用いることができる場合、MAIC(Matched adjusted indirect comparison: マッチング調整された間接比較)等を用いて患者背景の違いなど適切な補正を行う必要がある。

5.7.2 個人レベルのデータを用いることができない場合、複数のRCTを用いたadjusted indirect comparison(調整された間接比較)あるいはネットワークメタアナリシスなどに基づくことが望ましい。

5.7.3 個人レベルデータも比較試験結果も利用できない場合、その他の代替手段が存在しなければnaïve indirect comparison(単純な間接比較)を用いて評価をすることもできる。この場合、結果の不確実性について慎重に検討する。

しかしながらですね、この手法につきましてもですね、結構、データがないとですね、なかなか、この分析ができないと。難しいというのが現状と理解しております。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

ただ、何かやっぱり、評価を得るための方法論は必要かなと思っておりますけれども。

○米国医療機器・IVD 工業会保険委員会・鴨川幸子委員長

ちょっと現時点で、われわれとしては、ご提案するものはちょっと今はないんですけれども、はい。そのため、基本的にはRCTがあるものを対象としていただきたいというふうに考えております。

○江澤和彦委員（日本医師会常任理事）

そういうことですね。はい。了解です。ありがとうございます。

○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。ほかは、いかがでしょうか。はい、長島委員、お願ひします。

○長島公之委員（日本医師会常任理事）

はい。医薬品業界の団体にご確認させてください。日本の市場としての魅力についての基本的な認識です。

別添1

費用対効果評価(CEA)を価格設定や保険償還の可否判断に使用している国では、革新的医薬品への患者アクセスが悪化している

CEAを拡大することは、単に日本のドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの状況を悪化させる可能性が極めて高い

CEAを使用する国では、世界の新薬の上市の割合が低い

(2014年から2023年末までに発売された全500種類の新薬)

59%

39%



CEAを使用する国では、承認された医薬品であっても、保険償還される割合が低い

(2014年から2023年末までに承認された全新薬)

81%

50%



CEAを使用する国では、患者さんの新薬へのアクセスに長い遅延をもたらしている

(2014年から2023年末までの新薬の承認から保険償還までの日数)



5

Source: PERMA (Pharmaceutical Research and Manufacturers of America). Data from PERMA's 2024 Report to Congress, January 2024.
Note: This chart compares new drug approvals to CEA use, which includes both countries that have adopted CEA and those that have not. The chart shows that countries that have adopted CEA tend to have lower rates of new drug approvals and longer delays between drug approval and insurance coverage compared to countries that have not adopted CEA.

今回の資料の「費－4」、PhRMA が提出された資料の「別添1」、5ページのグラフを見ますと、費用対効果評価をさまざまに使用している国と、使用していない国で、

例えば、一番右側で、新薬の承認から保険償還までの日数が、CEAを使用している国で631日、CEAを使用していない国でも267日ですが、日本は新薬承認されれば原則60日で保険償還されます。もう圧倒的に早いです。比べ物になりません。

また、真ん中のグラフをご覧ください。承認されたものの保険償還された割合ですが、日本はほぼ大部分が償還されます。これも圧倒的に優れています。

つまり、日本の薬価というのが保険承認に、ある意味、直結しているという意味では、世界においても圧倒的に魅力的なはずなんです。

そのことを前提として、薬価の制度について議論すべきだと思いますが、このあたり、日本の市場としての魅力はどう評価されてますか。

○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）

これは、PhRMAさんに対するご質問ということで、よろしいですか？

○長島公之委員（日本医師会常任理事）

全ての団体からお聞きします。

○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）

全ての団体。はい。そうしましたら、最初は、

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい、ありがとうございます。長島委員がおっしゃられますように、日本はですね、非常に薬価承認から発売までが60日、90日ということで非常に短いです。これはUSAも、ほぼほぼ同様な日数であると理解しております。

それ以外の国はやはり、こういった、ご覧いただきますように、やはり伸びているというのが現状であります。

ただですね、これを今回の議論のHTAの観点というものを、こういったイニシャル・ステージのアセスメントに使うということになりますと、必ずですね、これが延びると。

今、先ほど私の陳述でも申し上げましたように、導入されている国の実際の起きてることというのは、やはり承認がなかつたり延びたりというアクセスの障害が起きてると。これが間違いなく事実でございますので、そのところが、まずわれわれの主張でありました。

長島委員のご質問にお答えしますと、これはですね、ここに関してはいい、非常にベネフィットといいますか、魅力的でございますんで、これをですね、やはり壊さないでいただきたいというのが、まずわれわれのお願いでございます。

○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。ほかの団体の方々、いかがでしょうか。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

すいません、JPMAから回答を申し上げます。おっしゃられるとおりですね、日本のこの薬事制度ですとか保険償還については、われわれとしましては本当に世界に誇れるスピード感を持ったですね、スピード感を持って患者さんへのアクセスをつくり上げることができているというふうに評価をしております。

今回は、費用対効果評価制度に関する議論と認識をしておりますが、薬価制度という観点も含めて、鑑みますと、やはり、これまでも団体として申し上げておるおりですね、薬価が付いたあとにですね、やはり毎年のように価格が下がるとかですね、薬価改定が起きる。

非常にこう、市場として、どう見られているかっていうと、予見性が低い国であるというふうに感じられております。

そういう観点からすると、じゃあ、新規の医薬品をですね、企業として投資をしながら、もってくるかどうかという議論においては、やはりこの予見性の低さというものがですね、非常に障壁になっておるというのも事実であるかというふうに考えております。

あともう1つは、やはり日本が特に革新的な新薬というイノベーションに対して、どのように評価をしているかという点は、今まさに重要なポイントであるというふうにわれわれは考えておりまして、先ほど、PhRMA からも話があったとおりですね、米国での動きもございます。

そういう中で、日本という国ですね、やはりイノベーションをしっかりと評価して、しっかりと患者さんのアクセスを確保できる国である、そういう形で見せることが重要であるというふうに考えております。以上です。

○欧州製薬団体連合会・青野吉晃理事長

はい。EFPIA のほうからも追加で発言をさせていただきます。今、長島委員からご指摘いただきました点につきましては、間違いなく日本市場の魅力だというふうに考えております。これにつきましては、本当に世界に冠たる、すぐに患者さんに恩恵を与えることができるという意味で、非常にメリットがあると思っております。

一方で、先ほどお2人からもお話を、ありましたように、さまざまな課題、改善いただければなあと思うところもあります。

そういうこともありますて、まず、それは言いながらもですね、非常に魅力度でありますアクセスが担保されているというところを維持するためにも、繰り返しになりますけれども、あくまで今のこの精緻な薬価制度の補完的な位置づけである、そういう観点に立って、ぜひ制度の議論をお願いしたいというふうに考えております。

○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、長島委員。

○長島公之委員（日本医師会常任理事）

ご回答ありがとうございました。業界からの意見がしばしば批判、マイナス点の指摘、極めて、そこだけになってるということで、

例えば、「ドラッグラグ、ドラッグロスが悪化するよ」というような、一種、脅しのような、にも聞こえるようなことが非常に多いんですが、

これだけ日本の市場が魅力的であるってことを大前提にして言っていただかないと、相対的な評価をしていただかないと、やはり建設的な議論にならないと思いますので、よろしくお願ひいたします。

○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、どうもありがとうございました。続いて、森委員ですね。

○森昌平委員（日本薬剤師会副会長）

はい、ありがとうございます。各団体におかれましては、ご説明いただき、ありがとうございました。

製薬企業に4点、お伺いしたくて、最後の介護費用に関しては、機器のほうからちょっと、ご説明いただければというふうに思っております。

まず第1点目ですが、前回の制度の見直しですね、価格引き上げの要件の一部が緩和がされました。ただ、これまで費用対効果評価で価格引き上げとなつたものはありません。これ、評価方法の問題なのか、項目なのか、枠組みなのか。

それから、今ありましたけど比較対照技術の選定なのか、それとも薬剤そのものなのか、この要因について業界として、どのように捉えているのかを1つお願いをしたいと思います。

続いて、具体的なことですけれども、比較対照技術に関して、PhRMAさんのほうからも具体的な考え方が示されていましたけども、これに関しての意見があればと思います。

「費-2」の5ページ目にもですね、若干記載ありますけども、比較対照技術を含む分析枠組みの設定によって追加的有用性の有無が左右されることはそもそもの課題で、費用増加となつた品目だけの問題ではないかというふうに考えているところになります。

詳細

A 分析方法に関する事項（4）その他

意見

- 追加的有用性がなく費用増加となった品目について、現行では価格調整後の価格によるICERと閾値の乖離が大きく、費用対効果評価の結果を十分に反映できていないのではないか。

- 追加的有用性がなく費用増加となった品目の取扱いに関しては以下のとおり。
 - 薬事承認や薬価算定で認められた「有用性」と、費用対効果評価における「追加的有用性」は評価の目的や基準が異なり、**単純に比較すべきものではない。**
 - 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**が必要である。
 - なお、**比較対照技術を含む分析枠組みの設定**によって追加的有用性的有無が大きく変動しうることに留意し、総合的な観点から追加的有用性の有無を判断すべきである。

5

3点目がですね、臨床実態と乖離しないというお話もありましたし、データの数の問題というお話もありました。リアルワールドデータの活用に関してです。

承認時のデータではなくて、リアルワールドデータを使用した評価方法を検討していくべきというふうに私も考えますけども、これ、製薬企業としての受け止めですね、実現可能性があるのかどうか、ということを伺いをしたいというふうに考えております。

最後は介護費用ですけども、費用対効果評価制度でどのような取扱いや位置づけとするのがよいのか。現時点では、お考えがあれば、これは機器のほうもお願いをしたいというふうに思っています。以上です。

○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、最初の3点は製薬団体のほうからということで、じゃ、最初に宮柱さん。補足があれば、また、ほかの方からもお願いします。

○日本製薬工業協会・宮柱明日香会長

はい。まず1点目に関しまして、価格引き上げとなった品目がないところについて製薬業界、どう考えるかということがあります。

現制度を見ますと、その価格引き上げのためにですね、費用対効果が良い分析結果が得られるというのがもちろんございますし、それに加えて別途、設定をされておる引き上げ条件を満たす必要がございます。

こちらのですね、引き上げ条件というのもですね、比較対照品目より効果が高いことが臨床試験等で示されている、その臨床試験もインパクトファクターの高い論文であったり、日本人を含むアジア人の対象集団における統計学的優位性とかですね、あと比較対照品目と比べても全く異なる品目であること等ですね、厳しい価格引き上げ条件としては、厳しいという条件があるというのが確かではございます。

そういう観点で現行制度では費用対効果が良いという結果 자체がですね、なかなか得られないが状況あり、これが影響して価格引き上げとなった品目は残念ながらないというふうに捉えております。

なので、われわれとしては価格引き上げ条件の整理にあたってはですね、仮に当該条件を緩和された場合に、評価が終了した品目の中で、引き上げに、価格引き上げに、その該当する品目がどの程度あったのか。こういったものも含めてですね、十分に検証していただきたいというふうに考えております。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい。それに加えまして、具体的なところですと、価格引き上げが起こる、今、値というのが I C E R の 200 ということになります。

実際、これですね、200 万以下の値が算出するっていうのは、非常に今、困難な状況だと考えています。

そもそもですけども、医薬品の革新性を評価する上で、I C E R 200 万円というのが適切な、そもそも値なのか、というところもですね、やはり、もう一度立ち止まって検討すべきではないかなと思ってます。

またですね、たとえ I C E R が 200 万円以下の結果を出すことができても価格引き上げになるには 2 つの条件を満たす必要が、宮林会長がおっしゃられたとおりなんんですけども、

そのうちの1つである比較対照薬と比べて全く異なる品目であること、または基準構造や作用原理が異なるなど、一般的な改良の範囲を超えた品目であるということを認めていただくという非常にハードルがまだ高い状況でございますんで、

こういったところもですね、具体的に、どのような、今後ですね、検討がなされるかということをですね、われわれは期待させていただきたいと考えております。

2つ目の質問に関しましては、

○米国研究製薬工業協会・ヴァイスプレジデント・ケビン・ハニンジャー氏(通訳)

9ページのところですけれども、この「別添5」と書いてありますけれども、それは、その比較対照の技術の選定のことに関して書いてあります。

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¹。
 - 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^{2,3}。
 - 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、リキスミアが選択された²。同薬剤の市場シェア（当時）は1%未満⁴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⁵、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、前述の観点よりも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。

PhRMA

Source: ① https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/guideline_pu_2024.pdf; ② https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/2021/07/20/212_Summary.pdf; ③ https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/2024/01/14/14.pdf; ④ https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/2024/01/14/14_03.pdf; ⑤ https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/2024/01/14/14_03.pdf; ⑥ https://www.phrma.org/-/media/phrma/guidelines/2024/01/14/14_03.pdf

現在の日本のこの臨床ガイドラインによりますと、比較対照技術は1つ選定するということでありまして、これは広く使われているものの中から1つに絞るということが書かれています。

4 比較対照技術

4.1 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のうち、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。

4.1.1 比較対照技術としては無治療や経過観察を用いることもできる。

4.1.2 「4.1.1」の場合を除いて、比較対照技術は原則として公的医療保険で使用が認められているものとする。

4.1.3 ただし、「4.1」において、一意に決めることが難しい場合は、無作為化比較試験(Randomized controlled trial: RCT)等における比較対照技術、価格算定上の類似技術、費用対効果の程度等も考慮して最も妥当と考えられる比較対照技術を両者の協議により選定する。

2つの課題がそれにはありますて、1つは、しばしば、その際に選ばれたその薬といったものは広く臨床で、実態で使われてる薬とは異なるものがその1つに選定されるということです。

その場合に、例えば「マンジャロ」という薬の場合には、比較対照技術として選ばれたものの当時の薬剤の市場シェアは1%未満でありました。ですから、そういったことで、最終的にはその薬は比較対照薬は販売中止となったわけであります。

そうなりますと、本当にその実臨床を反映したとは言えない、実臨床からかけ離れた形のものが比較対照薬として検討されたということになっている、そういう問題がございます。

第2の問題点でありますと、多くの場合には比較対照薬が複数あるということになりますて、それは違った患者の対照群を対象に治療しているとか、あるいは違った疾患を対象に使用しているからであります。

それですから、1つだけをその比較対照薬、技術を選ぶということは、その臨床の現実から離れて、かけ離れていってしまうということにつながりかねません。

そこで、私どもから提唱を申し上げたいのは複数の比較対照技術を選定するということでありまして、そして最終的に、それに1つに絞られたものは最も新しい技術によって置換される可能性の高いものを比較対照技術として選ぶべきであるということです。

そこで、その包括的に複数の比較対照技術といったものを検討する。そして、I C E Rにそれを反映させて評価を進めていくと。そして、そのアセスメントの結果では、より、この臨床の実態を把握した形で、より包括的かつ正確な形で日本の患者様のためになる形での評価が実現できると思っています。

それから、第3点の質問でありますリアルワールドデータの使用に関して、お答えしたいと思います。リアルワールドデータの使用は賛同しております、しかしながら、その使用法に関しては、そのプロセスあるいはスタンダードといったものが期待されます。

特に、承認時にリアルワールドデータといったものが非常に限られているということがあると思います。臨床試験の場合でもそうですが、特に希少疾患などの場合に、こうしたデータが限られておりますので、そのあとでデータを収集していくということが、メリットがあると思います。

しかし、リアルワールドデータを選んで、そして、それを活用していくというためには、やはりスタンダードと整合性のある合致した形でのプロセスや、そういうものが必要だと思います。

○米国研究製薬工業協会・在日執行委員会・傳幸諭委員

はい。4つ目の質問でございましたが、介護費用の取扱いということだったと記憶しております。まず介護費用ですけども、介護費用だけでなく、例えばインフォーマルケアであったり、労働損失、こういったものもですね、やはり考える必要も、本当はあるんじゃないかなと考えてます。

ですので、こういったものも含めてですね、今までの、アセスいただいた製品に関して、さらにもう一度振り返ってみて、「こういうものを入れたらどうなんだろう」ということをですね、客観的にもう一度検証いただき、それをもってして次の議論に進むということをぜひですね、ご検討いただきたいと考えております。

○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）

森委員、医薬品のほうからは、よろしいですか。機器のほうからということで、はい。じゃあ、機器のほうからは、よろしくお願ひします。

○米国医療機器・IVD 工業会保険委員会・鴨川幸子委員長

はい。それでは、医療機器のほうから返答させていただきます。介護費用につきましては、まだ現在、事例も非常に少ないです。少ないとことから、更なるご検討が必要かなと考えております。

われわれ医療機器のほうもですね、さまざま、介護費用を削減できるような医療機器、医療技術、ございますので、ぜひこちらについて前向きにご検討いただければと存じております。

○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、森委員、どうぞ。

○森昌平委員（日本薬剤師会副会長）

はい。ご説明ありがとうございました。2019年の4月ですか、費用対効果制度が開始されて6年が経ち、45品目が終了しています。そうした中、今、さまざまなお意見があったというふうに受け止めました。

ある程度の事例も集まった中で、費用対効果評価、次のステージに、ある意味では入るんではないかというふうに考えております。

費用対効果評価制度の本質である医薬品の価値を客観的に評価し、費用と効果のバランスを適切に見極めるため、これまでの評価結果や客観的な検証などを踏まえつつ、費用対評価技術の選定、それからリアルワールドデータの活用、介護費用の取扱いについて検討していくべきというふうに考えます。以上です。

○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、どうもありがとうございます。2号側委員からは、いかが。よろしいでしょうか。

はい。それでは1号側委員のほうから。はい、松本委員、お願ひします。