

6. 処方基準

次の事項に関する詳細情報を提出して下さい。

- －当該医薬品の適応症
- －現在入手可能な医薬品と比較した場合の用途（従来の治療で成功しなかった場合、特定患者グループへの使用など）
- －適切な投与量および治療期間

指示：
(i)
(ii)
(iii)
(iv)
既存の治療法と関連づけた当該治療法の位置づけ：
投与量および治療期間（適応症ごとに）：
1.
2.
3.
4.

7. 患者監視

当該治療法を受ける患者について定期的に行うべき患者監視（期間・頻度を含む）の詳細について記して下さい。

8. 処方上の制限

Drug & Therapeutics Committee は、適切な処方実施のため処方基準と医薬品監査とを組み合わせ用いるよう希望しますが、場合によっては制限を設けることが適切であると認めています。これについての意見を記して下さい。

制限を設ける YES/NO

「YES」と答えた場合、制限の内容を記して下さい。

（提案する制限の実用性について検討して下さい。）

9. コストに関する詳細

当センターの現在の方針では、外来患者に対する病院での処方を次のものに制限しています。

- PBS（医薬品給付制度）以外の品目／適応症
- Repatriation 病院での PBS/RPBS 品目 2 週間分
- Austin 病院内の公立病院での PBS/RPBS 品目 2 週間分

※Austin 病院での私費外来患者治療について、コスト関連の詳細記入は必要ありません。

(a) 入院患者コスト見積り（1 年分の見積り）

1. 一日平均投与量：
2. 推定入院患者数：
3. 推定入院患者入院期間： +7 日間の退院患者数：
医薬品使用：
4. 一日投与量のコスト：
5. 年間合計入院患者コスト見積額（2 × 3 × 4）

(b) 外来患者コスト見積り（PBS 以外の医薬品／適応症、Repatriation 病院での PBS/RPBS 品目、Austin 病院内の公立病院）

1. 一日平均投与量：
2. 推定外来患者数： -Austin 病院： -Repatriation 病院：
3. 推定治療期間（日）：
医薬品使用：
4. 一日投与量のコスト
5. 年間合計入院患者コスト見積額（2 × 3 × 4）

10. コスト面の比較

(i) 他の医薬品との比較

類似治療法の詳細及び類似治療法が当該医薬品導入の結果、医薬品リストから削除される可能性について記して下さい。

ジェネリック品名	1 日平均投与量	1 処置あたり平均投与量	*患者／月 または 1 処置 あたりコスト	登録医薬品リストからの抹消 あり／なし
1.				
2.				
3.				
4.				

* 薬局で記入。

(ii) その他の比較

当該新薬には、その他の利点（ベッド収容期間短縮、付加コスト削減など）がありますか。
その詳細を記して下さい。

11. 利害の抵触の可能性の宣言

本申請提出によって何らかの利害の抵触が生じる可能性があるか否かについて記して下さい。
利害の抵触を生じ得る例として、製薬企業の資金提供による研究、臨床会議出席への支援、
院内臨床会議に対する財政支援などがあります。

YES/NO

※「YES」と答えた場合、別紙にその詳細を記して下さい。

12. 申請者

氏名：		職位：	
署名：			
日付：		電話番号（内線）	

13. 支援機関

署名：	担当部の長
日付：	

次の担当者宛に返送して下さい：

Austin & Repatriation Medical Centre 薬剤部
Drug&Therapeutics Committee 書記 W. Thomson

毎月（1月を除く）第4火曜日に会議が開催されます。提出申請は、遅くとも毎月第3火曜日までに受領されることが必要です。

インタビュー

- ・ Ammish Adu (Commonwealth Department of Health and Aged Care)
- ・ Jen Nixon (Commonwealth Department of Health and Aged Care)
- ・ Margaret Bonner (Commonwealth Department of Health and Aged Care)
- ・ Paulette Quang (Australian Pharmaceutical Manufacturers Association Inc.)
- ・ Ken Nobbs (Australian Pharmaceutical Manufacturers Association Inc.)
- ・ Yvonne Alinson (The Society of Hospital Pharmacists of Australia)
- ・ Helen Matthews (St. Vincent's Hospital)
- ・ Rob Carter (The University of Melbourne)
- ・ Jane Hall (Centre for Health Economics Research and Evaluation)
- ・ Emily Lancsar (Centre for Health Economics Research and Evaluation)
- ・ Maureen Robinson (New South Wales Health Department)
- ・ Stephanie Short (The University of New South Wales)

第4部

オーストラリア・薬剤経済学ガイドライン

薬剤給付制度

出版物^注

「薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類（経済分析を伴う主要提出書類を含む）の作成に関する医薬品業界向けガイドライン」に添付の中間文書

連邦保健・高齢者介護省

2000年4月初版発行

この中間文書は、以下の点で1995年11月のPBACガイドラインと異なっている。

- セクション2.1および2.2を修正
- セクション2.2Aを新たに追加
- セクション3を修正
- 付録A1を新たに追加
- 付録K1を新たに追加

この中間文書の位置づけ

この中間文書は、1995年11月発行の「薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類（経済分析を伴う主要提出書類を含む）の作成に関する医薬品業界向けガイドライン」を取り上げている。薬剤評価部は、2000年6月1日以降の主要提出書類に関する注解を作成するに当たって、この中間文書に従う。現在進められているPBACガイドライン改定プロセス終了後、この文書に代えて新版ガイドラインが実施される。本文書は、医薬品業界とPBAC、PBAC顧問による重要な合意を表している。PBACは、この中間文書で採用されるアプローチを1999年に承認した。

したがって、薬剤給付付録への掲載を申請する薬物のスポンサーには、主要提出書類の作成に当たって、1995年11月発行のPBACガイドラインの関連セクションに代えて、この中間文書に従うことを勧める。本文書は以下の事項を取り上げている。

^注 本稿は、以下を翻訳したものである。本稿の引用を禁ずる。

- Interim Document to accompany the Guidelines for the Pharmaceutical Industry on Preparation of Submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee: including major submissions involving economic analyses (<http://www.health.gov.au/pbs/pubs/pharmpac/interim/index.htm>)
- Guidelines for the Pharmaceutical Industry on Preparation of Submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee: including major submissions involving economic analyses (<http://www.health.gov.au/pbs/pubs/pharmpac/gusubpac.htm>)

（翻訳：池田俊也）

- セクション 2.1 および 2.2 の再配置
- 新規セクションの追加（セクション数を計算する際の混乱を最小限に抑えるために 2.2A と表示）
- セクション 3 の大幅修正
- 新規付録の追加（付録数を計算する際の混乱を最小限に抑えるために K1 と表示）

この中間文書発行以後の主要提出書類は、上記の表示方法に従わなければならない。

この中間文書は、以下の点で 1995 年 11 月の PBAC ガイドラインを変更するものである。

- 文献等の調査結果に基づくランダム化試験エビデンスの選択
- モデル経済評価の提示

PBAC ガイドラインと関連文書のあらゆる部分と同様に、この中間文書に関するご意見も歓迎する。下記まで送付のこと。

The Director
Pharmaceutical Evaluation Section
Department of Health and Aged Care
GPO Box 9848
Canberra ACT 2601
AUSTRALIA

薬剤給付制度 出版物

「薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類（経済分析を伴う主要提出書類を含む）の作成に関する医薬品業界向けガイドライン」に添付の中間文書：セクション 2 および付録 A1

連邦保健・高齢者介護省

2. 主要適応症に関するランダム化比較試験に基づくデータ

2.1 関連データ調査方法の説明

分析対象の試験の選択に当たっては、まず、主要適応症について、申請薬剤と主要比較対照とを比較できる関連試験をすべて検討しなければならない。適切な調査方法を利用して、これらの試験を特定しなければならない。その際、少なくとも三つのアプローチを採用すべきである。すなわち、公表文献の調査（この調査の説明方法の詳細については付録 A を参照）、コクラン臨床試験登録の調査、スポンサーの本支社が（未公表も含め）追加試験を実施しているかどうかの確認である。

公表文献、コクラン臨床試験登録、当該企業が保有する未公表データから関連臨床・経済データを検索するために、どのような調査方法を利用したかについて説明する。

その際、「電子デリミッター」の利用といった改良点の説明が必要になるかもしれない。このような方法を利用して最初の調査方法の焦点を絞り、セクション 2.2 および 2.2A に概説した調査目標に照準を合わせる。

2.2 すべてのランダム化比較試験の列挙

PBAC は、申請薬剤と主要比較対照とを直接比較する、いわゆるランダム化「直接比較」試験に基づく経済評価を特に優先している。この方法は常に利用できるわけではなく、利用できない場合は、共通の対照薬を用いた 2 組のランダム化試験の分析が選択肢として考えられる（詳しくはセクション 2.5 を参照）。ランダム化試験は常に利用できるわけではない（例えば、癌や希少疾病の一部の薬物）ことが認識されている。しかし、ランダム化試験に基づくエビデンスがまったくなければ、申請薬剤と主要比較対照との間に臨床的または経済的な差異があるかどうかを判断するのが難しい場合が多い。非ランダム化研究からのデータに基づく提出書類のさらなる説明については、セクション 2.2A～2.8 ではなく付録 L を手引きとして参照されたい。

この順位付けの意図は、主要提出書類の主なエビデンスを最も簡単に確認することである。補足的エビデンスも利用することができる。詳しい説明についてはセクション 2.2A を参照のこと。

ランダム化比較試験のリストを作成しなければならない。薬剤評価部は、独自の文献検索を実施する。この調査で提出書類に列挙されない関連試験が見つかった場合、その提出書類の処理は問題が解決されるまで停止する。

主要適応症に関して申請薬剤と主要比較対照とを直接比較するすべてのランダム化試験（「直接比較」試験）の詳細な引用を列挙する。そのような試験がない場合は、その旨を明記したうえで、主要適応症に関して申請薬剤と他の療法（プラセボを含む）とを比較するすべてのランダム化試験の詳細な引用を列挙する。主要適応症に関して主要比較対照と同じ基準治療とを比較するすべてのランダム化試験の詳細も、同様に示さなければならない。申請薬剤か主要比較対照のランダム化試験が実施されていない場合は、その旨を明記したうえで、主要適応症に関係のある非ランダム化研究をすべて列挙する。

2.2A ランダム化比較試験の選択

文献検索の結果に基づき、報告のためのランダム化比較試験をどのように選択したかを説明する。技術文書か提出書類付属資料で、検索結果（プリントアウト）の全容を提示する。これらの調査から除外した残りの引用すべての正当な理由を示さなければならない。セクション 2.3～2.8 の追加報告のために残っている主要試験を列挙する。

付録 A1 は、この提示方法に関する詳しい説明であり、議論を呼ぶ可能性のある除外を明確にしている。そのような場合は、参考文献に当該論文の写しを収録し、その試験を提出書類の残りの部分に含めないという決定を独立して立証できるようにしなければならない。

付録 B に対応する試験の説明に関する評価は、方法論的に欠陥のある試験を除外する根拠になる場合がある。付録 C の質問 (c)、(d) および (e) に対する回答は、当該提出書類に関係のない一部の試験を除外する根拠になる場合がある。付録 D の質問 (a) および (b) (i) に対する回答は、一部の試験を除外する根拠になる場合がある（例えば、最終アウトカムが他の試験で報告されている場合に、代理アウトカムを報告する試験）。

提出書類の本文に、主要ランダム化試験の十分な詳細を付属資料として収録すべきである。複数のランダム化試験報告書がある場合（例えば、公表論文と、法規に従うためにスポンサーが保有する内部試験報告書）は、その公表論文とスポンサーの試験報告書の抜粋とを提示する（詳しくは本パート冒頭のチェックリストを参照）。同じ試験でも、報告書に

よって結果が異なる場合がある。そのような場合は、当該提出書類のために抜粋した結果の出所を選んだ正当な理由を示さなければならない。

提出書類に示したエビデンスの出所が、査読制の雑誌に発表された独立実施のメタ分析で、本セクションに列挙する重要な試験をすべて組み入れている場合は、セクション 2.3～2.5 の代わりに付録 G を参照すること。あるいは、エビデンスの出所が一つの大規模な試験である場合は、この試験についてのみセクション 2.3～2.8 に従い、この試験との一貫性を検証する他の試験（付録 G を参照）のメタ分析を示す。

補足的なランダム化試験データを収録した正当な理由を示さなければならない。セクション 2.3～2.8 の追加報告のために付け加えた補足試験を列挙する。

科学的に最も厳密なエビデンスに検討を加えられるように、場合によっては、追加的なランダム化試験からのエビデンスによって主要な直接比較試験を裏付けることが妥当かもしれない。例えば、一つの不十分な直接比較試験しか利用できない場合である。考えられる補完的情報として、以下のようなものが挙げられる。

- (a) はるかに多くの被験者に基づく共通基準薬による 2 組の試験の分析
- (b) 申請薬剤と効果・安全性の面で主要比較対照の同等品と広く認められている複数の薬物とを比較するすべての試験および直接比較試験を含むメタ分析
- (c) 主要比較対照と効果・安全性の面で申請薬剤の同等品と広く認められている複数の薬物とを比較するすべての試験および直接比較試験を含むメタ分析

補完的なランダム化試験を個別に確認し、当該提出書類の他の参考文献とともに収録すべきである。この補完的情報は明確に表示し、主要試験に基づく情報と区別しなければならない。

科学的に最も厳密な出所からのエビデンスが明確に優先されるといっても、最低基準を満たさなければならないということではない。PBAC は今後ともすべてのエビデンスを検討することにしてはいるが、最も厳密なランダム化試験の結果を何よりも重視する。

付録 A1

ランダム化比較試験の選択の提示

参照：セクション 2.2A、付録 B、C および D

セクション 2 でそれ以上提示されていない文献検索結果（プリントアウト）の引用について、それぞれ除外の理由を説明しなければならない。セクション 2.2A で、選択プロセスとアウトカムの要約を提示する。

検索結果の引用を除外した理由を提示する。

文献検索結果（プリントアウト）の引用すべてをセクション 2 で提示する必要があるわけではない。議論の余地がないであろう引用の除外には、多くの理由が考えられる。そのような理由のうちのいくつかに基づいて、一部の電子文献検索方法に焦点を当てる際に引用を除外することもできる（セクション 2.1 を参照）。残りの引用を除外する理由は、プリントアウトの引用と並記すべきである。

以下のいずれかの理由で試験を除外した場合は、異論が唱えられる可能性がある。したがって文献検索のプリントアウトに注釈を付し、論文全体の写しを提示しなければならない。

1. 当該試験に、ランダム化やフォローアップ、盲検化に関して重大な方法論的欠陥がある（付録 B を参照）。
2. 被験者が、薬剤給付制度（PBS）に基づいて申請薬剤の投与を受けそうな患者と重複していない（付録 C (c) を参照）。
3. 当該試験が、リスト掲載を申請しているものと異なる用法・用量を利用している（付録 C (d) を参照）。
4. 当該試験のフォローアップ期間が不十分である（付録 C (e) を参照）。
5. 当該試験が、提出書類と関係のないアウトカムを対象としている（付録 D (a) および (b) (i) を参照）。

上記の除外基準を適用するかどうかは任意である。利用可能なデータによっては、これらの除外基準が科学的に最も厳密な利用できるエビデンスを除外する場合は、適用すべき

ではないだろう（例えば、それ以外に関連ランダム化試験がない場合は、そのランダム化試験を除外するのは適切ではない）。ある試験を除外すべきかどうか定かでない場合は、一般に含めておいた方が賢明である。

セクション 2.2A における引用の選択に関する要約の提示

フローチャートか表を利用して、セクション 2.1 に従って報告した検索からの引用の除外を要約する。除外理由は、文献検索のプリントアウトに示される詳しい理由と相互参照できるようにするべきである。要約では、関連する体系的概観やメタ分析を報告する引用の除外も詳しく示さなければならない。

薬剤給付制度 出版物

「薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類（経済分析を伴う主要提出書類を含む）の作成に関する医薬品業界向けガイドライン」に添付の中間文書：セクション 3 および付録 K1

連邦保健・高齢者介護省

3. 主要適応症に関するモデル経済評価

3.1 モデル評価の必要性

モデル経済評価を提示するかどうかに関する決定が正当であることを証明しなければならない。

ランダム化試験は、申請薬剤の完全な臨床・経済実績に関する判断の基準となる情報を十分に提供しないことが多い。このような場合（判断の問題だが）は、PBAC にとってモデル経済評価が役立つ。付録 J は、モデル経済評価が有益であろうと思われる場合について説明している。

モデル経済評価を含まない提出書類は、セクション 3 の残りの部分を省略することができる。

すべてのモデルには三つの基本的特性がある。すなわち、投入変数、投入変数を操作するための構造的デザイン、結果を構成するアウトプットである。感度分析を実施し、モデルの原動力となる変数や構造の構成部分を明確にし、その結果・結論の堅牢性を評価する。本セクションの目的は、上記三つのモデル特性とその感度分析を分かりやすく提示できるよう手助けすることである。

3.2 モデル評価で利用した母集団

どのような母集団を費用とアウトカムの計算の基礎として利用したか？

これは仮想母集団の場合もある（例えば、典型的な狭心症患者 100 人、40～60 歳の男性高血圧患者 1,000 人）。必要があれば、薬剤給付制度（PBS）の目標母集団と試験対象の母集団の両方に関して、母集団の定義が正当であることを証明しなければならない。

3.3 モデル評価で利用したアプローチ

モデル化した経済評価の種類（付録Hを参照）と利用したアプローチについて説明する。

経済評価のモデル化アプローチはさまざまである。これがすべてではないが、いくつか例を挙げれば、スプレッドシート、判断分析、マルコフ過程、モンテカルロ・シミュレーションなどがある。付録K1は、複数の期間に及ぶ判断分析（マルコフ・モデルやモンテカルロ・シミュレーションを含む）の提示について、具体的な説明を示している。

複雑な分析の場合は、技術文書か提出書類付属資料を添付し、計算の詳細と利用したコンピュータ・モデルの写しを示す。必要に応じて、技術文書または付属資料と提出書類本文の関連項目とを明確に相互参照できるようにしなければならない。スプレッドシート・コンピュータ・モデルは、PESが使用しているソフトウェア（現在はマイクロソフト・エクセル 97）のフォーマットか、このソフトウェアで利用できるフォーマットに合わせなければならない。現行ソフトウェア以外のソフトウェアを使用する場合は、PESに確認すること。当該モデルで利用したデータや意見の出所の写しも提出しなければならない。これらの個別文書は評価担当者の査定を受けるが、委員に転送されるのは委員から請求があった場合だけである。

3.4 モデル評価の変数

モデルの変数をすべて列挙し、文書化しなければならない。その際、表にまとめることが望ましいだろう。各変数の名前（および必要に応じて定義）、数量、出所を示さなければならない。

変数には以下のようなものがある。

- a. 判断分析のそれぞれの枝の確率。申請薬剤とその主要比較対照とを表す二つの判断モデルを区別し、治療効果をシミュレートした確率に特に注意する。
- b. 患者関連のアウトカム
- c. 資源項目（この変数には単位費用も含めなければならない）

変数の名前は十分に具体的なものにすべきである。例えば、AN-DRG 項目番号の方が入院時の症状よりも的確である。それぞれの出所について適宜、項目番号やページ番号など完全な引用の詳細を示す。変数によっては（例えば、ある資源項目の数量や単位費用）、複数の出所を引用する必要があるかもしれない。また、必要に応じて評価や正当化を行うべき

変数もある（例えば、セクション 2.6 で以前に提出したエビデンスと異なるデータや意見を利用するときや、資源の場合は、申請単位費用が『資源項目とその関連費用に関するマニュアル』で推奨されるものと異なるとき）。

- (b) および (c) の項目を確認し、それぞれの測定方法を定義しやすくするために、付録 D (a) および (b) (i)、付録 E、付録 F を参照されたい。

3.5 モデル評価の構造

モデルの構造を説明しなければならない。

検討した選択肢を明確にし、モデルの設計に当たって選んだ選択肢が正当であることを証明する。モデル構造に組み込まれた暗黙の仮定に検討を加え、必要に応じて論評する。モデル化されたアウトカムが治療の最終アウトカムを表しているかどうかを示す。必要に応じて、測定した短期あるいは代理のアウトカムとモデル化した最終アウトカムとの関連を説明し、その正当性を証明しなければならない（これらのアウトカムを時の経過とともに数量化する方法の正当化を含む）。適切なフォローアップの時間範囲を規定し、それが正当であることを証明する。

治療の最終アウトカムを検討して正当性を証明しやすくするために、付録 K を参照のこと。モデル評価は、最終アウトカムを最も厳密かつ妥当に推定するアウトカム測定基準に基づいて行うべきである（付録 K を参照）。どのアウトカム測定基準を選んだ場合も、その選択が正当であることを証明すべきである。モデルの種類によって、あるいは望ましいアウトカムと不利なアウトカムの両方をカバーするために、複数種類のアウトカム尺度が必要かもしれない。

ランダム化試験で直接測定されていない場合は、モデル評価の対象に、本セクションでアウトカムに関して導き出した効用加重値を含めることができる（付録 E を参照）。

モデル化に当たって非ランダム化研究からのデータと専門家の意見の利用に関するさらなる手引きは、それぞれ付録 L および O を参照されたい。

アウトカムを時の経過とともに数量化した場合は、基礎となる仮定と論拠を説明する。例えば、消化性潰瘍の再発回数が一連の期間を通して一定を保つことはないだろう。他の病気では、アウトカムと時間との間に直線関係があると仮定するのが、臨床的に妥当と思われる場合もある。代理アウトカムと最終アウトカムとの関係のモデル化に関するさらなる手引きは、付録 K を参照されたい。

適切なフォローアップの時間範囲は、病気・治療パターンと、病気の自然な経過において、アウトカムが発生すると予想される推定期間によって決まる。尿路感染症の場合は、15～20 日が適切だろう。高血圧や消化性潰瘍の場合は、数年に及ぶ時間範囲を考慮する必要があるだろう。

3.6 モデル評価の結果

モデルの結果は、まず個別に提示したうえで、徐々に集計した形で示す（必要に応じて割り引く。付録 I を参照）。アウトカムと資源について別々に、また申請薬剤とその主要比較対照について別々に、適切に集計して割り引いた結果を提示する。最後に、申請薬剤を主要比較対照の代わりに用いた場合に、アウトカムを 1 単位増やすために必要な増分費用を示す。

当該モデルで時の経過に伴う変化を推定する場合は、x 軸を時間、y 軸をアウトプットの変化とするグラフに、主要なアウトプット（増分費用、増分アウトカム、増分費用対効果など）を示す。

個別結果の提示方法は、モデルの種類によって異なる。例えば、可能であれば、供給された各種資源を自然単位の数量や金額ベースの費用で示したり、判断分析の樹形図のそれぞれの枝に関係のある費用とアウトカムを提示したりする。

各種資源の金額での評価に関するさらなる手引きは、付録 I を参照されたい。

提出資料で間接便益を主張している場合は、その便益を含めたアウトカムと含めないアウトカムとを提示しなければならない（論拠については付録 I を参照）。

申請薬剤の方が価格も効果も高い場合は、アウトカムを 1 単位増やすためにどれだけ余分に費用がかかるかを増分比で把握すれば有用である。増分比を示す場合は強調しなければならない。例えば以下の例が挙げられる。

- a. 追加細菌治療 1 回当たりの追加費用
- b. 質調整生存年 (QALY) を 1 年伸ばすための追加費用
- c. 1 年間にわたって潰瘍がない患者を 1 人増やすための追加費用
- d. エイズに進行しない期間を 1 年伸ばすための追加費用

3.7 モデル評価の感度分析

極値を利用して、すべての変数について一方向感度分析を実施しなければならない。表形式にまとめ、トルネード・ダイヤグラムとして提示する。一方向分析で感応性が確認されたすべての変数について、双方向感度分析を実施する。表形式にまとめ、グラフとして提示する。

モデルの結果のあらゆる側面を経験的に得られた対応する結果と比較し、差異があれば論評する。モデル評価の構造に関する仮定の変化で、重要だが異論のあるものに対して、モデルがどのように感応するかを調べれば有用だろう。

これらの分析は、評価の際に利用した変数の変化に評価がどのように感応するか判断するうえで重要である。割引が必要とされた場合は、異なる割引率（非金銭的アウトカムだけについて、また費用とアウトカムの両方について、割引率ゼロの場合を含む）に対する結論の堅牢性を調べるべきである。

付録 K1

複数期間にわたる判断分析の提示

参照：セクション 3.3、3.4、3.5、3.6 および 3.7

以下の指導の目的は、マルコフ・モデルやモンテカルロ・シミュレーションなど、より具体的な複数期間にわたる判断分析に、セクション 3.4～3.7 のより一般的な論評を適用しやすくすることである。この手引きは、一般的論評に取って代わるのではなく、それを補足するものである。

モデル評価の変数

セクション 3.4 で文書化する一般的変数に加えて、健康状態とモデルの遷移確率も記載しなければならない。健康状態の種類（例えば一過性、吸収）を規定するべきである。遷移確率は、一般にマトリックスで提示する。それぞれの遷移確率が一定している（マルコフ連鎖）か、それとも時の経過とともに変化する（マルコフ過程）かを示す。それぞれ申請薬剤とその主要比較対照とを表す二つのマルコフ・モデルを区別し、治療効果をシミュレートした遷移確率に特に注意する。モデルのそれぞれの患者関連アウトカム・資源項目を、関連する健康状態に明確に結びつけなければならない。

モデル評価の構造

セクション 3.5 で提示する一般的論評に加えて、遷移ダイアグラム（またはマトリックス）を示し、すべてのモデル化した健康状態と、各健康状態間の遷移経路の有無・方向を表す矢印とを記載しなければならない。選択した（および複雑になりすぎないように除外した）健康状態が正当であることを証明する。必要に応じて、暗黙の仮定について論評する。例えば、以下のマルコフ仮定を確認するのが適切かもしれない。遷移確率は一定かどうか。この場合、モデルの「無記憶」仮定は有効か（すなわち、以前の状態の記憶がないと仮定するのは正しいか）？

モデルの仕組みについて説明する。サイクル寿命とフォローアップ期間を規定し、必要に応じて論評する。半サイクル補正を含めたか否かを明記するか、その除外の正当性を証明する。

モデルの計算方法（例えば、仮想コホートやモンテカルロ・シミュレーション）について説明する。

モデル評価の結果

セクション 3.6 で提示する一般的な結果に加えて、表形式か図形式（表と図の両方が望ましい）でマルコフ・トレースを示す。このトレースが意味をなすかどうかについて論評する必要があるかもしれない。それぞれの群（すなわち、申請薬剤とその主要比較対照）について、および各サイクル後に、以下の措置を講じる。

1. 各状態にあるコホートの比率を確認する。
2. 各コホートのアウトカム（例えば効用値）と費用を（各サイクルごと、および累積的結果として）合計し、必要に応じて割り引く（付録 J を参照）。
3. 増分費用対効果を（両群から）計算する。

このトレースを、対応する経験的データ（例えば属性区分ごとの生存年）と比較する。差異があれば論評し、説明する。

薬剤給付制度 出版物

薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類（経済分析を伴う主要提出書類を含む）の作成に関する医薬品業界向けガイドライン

このガイドラインは、以下の四つの主要パートに分かれている。

第1部：PBACの役割と責任

第2部：PBACへの提出書類の作成に関する基礎情報

第3部：主要提出書類の本文を作成するためのガイドライン

第3部は、主要提出書類に盛り込むべき情報を詳述している。また、その他の不可欠な情報を提供する一連の付録も収録している。第3部は次の四つのセクションに分かれている。

- セクション1：申請薬剤と薬剤給付制度（PBS）に基づくその用途案の詳細
- セクション2：主要適応症に関するランダム化比較試験からのデータ
- セクション3：主要適応症に関するモデル経済評価
- セクション4：使用量と財政的影響の推定

2000年4月、中間文書でセクション2.1、2.2および3が修正され、新たに付録A1およびK1が追加された。

第3部には、主要提出書類の作成を支援する技術的注釈を示す一連の付録も収録されている。

第4部：本ガイドラインについて

医薬品業界にとって重要な具体的問題の解釈に関する補遺もある。

薬剤給付制度 出版物

薬剤給付諮問委員会（PBAC）への提出書類の作成に関する医薬品業界向けガイドライン：第1部

PBACの役割と責任

PBACの役割

薬剤給付諮問委員会（PBAC）は、1953年国家医療法に基づいて設置された。PBACの目的は、どの薬物・医薬品を薬剤給付として提供すべきかについて保健大臣に勧告し、同大臣から委任されたその他の薬剤給付制度（PBS）関連問題について大臣に助言することである。PBACは同法に基づき、申請された給付の効果・費用を他の療法と比較検討する義務も負う。

PBACのメンバー構成は同法で規定され、保健大臣に指名される委員は開業医と薬剤師である。メンバー構成は官報に発表される。その詳細は、PBAC事務局に請求すれば入手することができる。

新規医薬品は、オーストラリアで販売する前に治療用品管理局（TGA）に登録しなければならない。登録は、品質・安全性・有効性の評価に基づいており、このプロセスにはオーストラリア薬物評価委員会（ADEC）が関与することが多い。製品は個々の適応症ごとにオーストラリア治療用品登録簿（ARTG）に登録される。一般にPBACは、登録されていない適応症についてはPBSでの製品リスト掲載を勧告しない。したがってPBACは、ARTGに掲載される製品がオーストラリアでの販売を許可するに十分な安全性・有効性を備えていることを認めている。

PBACは、医薬品がオーストラリア政府の給付対象に適しているかどうかについて勧告する義務を負う。したがってPBACは、同一または同様の適応症ですでにPBSに掲載されている他の製品と比較しながら、ある製品の効果と費用対効果、臨床上の位置づけを検討する。代替薬が収載されていない場合、PBACは、当該製品の効果、費用対効果、臨床上の位置づけを標準的治療と比較しながら、また、新製品が患者に提供する便益をその達成に必要な費用と比較しながら検討する。地域社会での利用に基づいて、PBACはPBSで償還される最大数量・反復回数を勧告し、適応症に関する制限を勧告する場合もある。

リスト掲載を勧告するに当たって、PBACは、代替治療やその費用対効果（「金額に見合う価値」）との比較に関して薬剤給付価格設定局（PABA）にも助言する。