

PBS に基づいて利用できる薬物・剤型の範囲は、オーストラリア社会の大多数の保健ニーズを満たす薬物処方集となる。

## **小委員会**

国家医療法に基づいて、PBAC は適切な専門知識を有するメンバーで構成される小委員会を設置し、PBAC の職務遂行を援助させることができる。現在、二つの小委員会、すなわち薬物利用小委員会（DUSC）と経済小委員会（ESC）がある。

薬物利用小委員会は、薬物利用のパターンや傾向を監視し、薬物利用データを公表している。

経済小委員会は、費用対効果の方針について助言し、PBAC への主要提出書類を費用対効果の面から評価する。

## **質の高い医薬品利用**

PBAC は質の高い医薬品利用を奨励するために、PBS 付録に注意や注釈を含め、PBS 制限を文書化するとともに、全国総会を発足させ、オーストラリア薬物利用データを作成・発表している。また PBAC は適宜、薬剤給付の適切な利用を支援する教育活動に関して、薬剤保健・合理的医薬品利用委員会にも勧告している。

## **提出書類の処理**

PBAC は、医薬品の業界スポンサーからの提出書類だけでなく、医療機関、保健専門家、民間人、上記各者の代表からの提出書類にも検討を加える。しかし、新製品や新しい適応症については、一般にスポンサーかメーカーが、そのような提出書類に必要なデータを保有しているだろう。

PBAC は、国家医療法の守秘規定に従い、PBAC の手続きを可能な限り公開する必要があることを認識している。したがって PBAC は、検討対象の文書・評価をスポンサーに提供している。また、医薬品の提出書類をめぐってスポンサーが PBAC と事前協議する機会も与えている。PBAC は、補助対象リストへの掲載が適切な場合に、販売承認から掲載までに不必要に長い時間がかからないようにする必要があることも認識している。そのために、妥当な締め切りまでに受領した提出書類はすべて、その次の PBAC 会合で検討している。この締め切りは、会合まで十分な時間的余裕を見て、医薬品業界に前もって提示される。ADEC が登録を勧告していれば、PBAC は販売承認に先立って提出書類を受領する。

PBAC の決定は会合後 15 労働日以内に書面でスポンサーに通知され、PBAC 会合と薬剤給付価格設定局の会合を調整して処理時間をできる限り短くする。

## **PBAC が従う一般的ガイドライン**

PBAC は、国家医療法の要件に基づいて審議を行う。オーストラリア社会の保健ニーズを満たすうえで医薬品が果たす役割は、重要な検討対象事項である。医学的根拠に基づいて PBS リスト掲載が適切と考えられる薬物については、国家医療法の要件に従い、費用対効果などの経済的要因を考慮に入れる。

新しい薬物は、以下の場合にリスト掲載を勧告することができる。

1. (a) 現行リストの薬物がまだ対象としていないか、十分に対象としていない重大な病状の予防または治療に必要であり、容認できる費用対効果である場合

(b) すでに同じ適応症でリストに掲載されている薬物よりも効果があるか毒性が低く（もしくはその両方）、容認できる費用対効果である場合

(c) すでに同じ適応症でリストに掲載されている薬物と少なくとも同等の効果と安全性があり、費用対効果が同等以上である場合

保健大臣の指示に従い、以下の措置を講じる。

(a) PBAC は、製品の増加が混乱を招くおそれがある場合、特にすでにリストに掲載されている薬物の追加的処方に当たって社会のニーズや便益を考慮に入れる。

(b) PBS は主として地域の患者を対象としているので、入院患者専用の薬物は、リスト掲載に当たって優先順位を低く設定する。

(c) 臨床的に重要でないか取るに足りない症状を治療するための薬物は、リスト掲載に当たって「低い優先順位」を設定する。

以下の薬物については、リスト掲載は勧告されないだろう。

(a) 合剤。一般に PBAC は、薬物の投与量は各患者に適合させなければならず、合剤ではそれができないおそれがあると考えている。個々の成分の薬物動態的・薬力学的特性が著しく異なり、適切な投与量や投与間隔を決定するのが難しい場合がある。

しかしながら、ある配合が適切と考えられ、一つの処方成分があれば他の処方成分の効果が高まるか、毒性または誤用の可能性が低くなる場合は、リスト掲載が勧告されるかもしれない。

(b) 誤用または依存の問題を悪化させる可能性がある薬物

(c) ある薬物に対して独特の反応を示すか、独特のニーズのある特定患者の治療だけを目的とする薬物

ある薬物がリストから削除される可能性があるのは、以下の場合である。

(a) より効果的な薬物か、効果は同等だが毒性の低い薬物が利用できるようになった場合

(b) 当該薬物の効果が不十分であることを示すエビデンスが得られた場合

(c) 当該薬物の毒性または誤用可能性が、その治療価値を上回ることを示すエビデンスが得られた場合

(d) 当該薬物が廃棄されたか、もはや利用できなくなった場合

(e) 当該薬物による治療が、もはや他の療法と比べて費用対効果に優れるとみなされなくなった場合

ある薬物・剤型を制限的給付リストまたは要認可リストに掲載するかどうか検討する目的は、以下のとおりである。

(a) PBS 利用を制限し、TGA が付与した承認・登録と合致するようにすること。

(b) 新しい治療分類の薬物の導入を管理できるようにすること。

(c) 臨床上的理由や費用対効果の理由などで、適切とみなされる適応症、症状または環境に、PBS 利用を制限すること。

(d) 有害事象や予想される悪用・誤用・乱用に対処すること。

### **リストに掲載された最大数量と反復回数**

PBAC は、各剤型の処方に適用すべき最大数量と反復回数とについて勧告する。急性疾患

については、最大数量は一般に（当該メーカーのパックに含まれる数量を考慮に入れて）通常の治療 1 回分に十分な数量である。慢性疾患については、治療対象の症状に関する臨床検査の必要性によるが、一般に最高 6 カ月分の治療に対応する最大数量と反復回数が定められている。平均以上の量を投与する必要がある患者については、一般に認可制を通して、リストに掲載された最大数量と反復回数を増やすことができる。

## 高度専門薬物

連邦保健大臣と各州保健大臣との合意によって高度専門薬物作業部会が設置されてから、地域の患者を治療するための薬物利用が地域の医療環境に適していない場合に、病院の外来部門を介した高コスト高度専門薬物の提供を勧告できるようになった。

## 助言者

PBAC は結論を立案するに当たって、関連専門機関や適切な専門家に頻繁に専門的意見を求めており、関連医療専門組織・大学の代表と会合を開くことができる。

## リストの見直し

PBAC は、制限、最大数量、反復回数など、薬剤給付リストの内容を定期的に見直している。

## 一般的情報

### 事務局

連邦社会福祉保健省の以下の部署が、PBAC と各小委員会の事務局を務めている。

PBAC : PBAC 事務局とリスト管理部

電話 : (02) 6289-7099

ファックス : (02) 6289-8633

ESC および DUSC : 薬剤評価部

電話 :

ESC 事務局 : (02) 6289-7486

DUSC 事務局 : (02) 6289-7293

ファックス : (02) 6289-8641

各事務局は、提出書類案や関連問題をめぐる議論にいつでも応じている。また、PBAC の議論や決定に関する最初の接点でもある。

所在地

通信文はすべて下記宛てに送付のこと。

The Secretary Pharmaceutical Benefits Advisory Committee  
GPO Box 9848  
CANBERRA ACT 2601

提出書類は下記宛てに送付のこと。

3rd Floor Alexander Building Furzer Street PHILLIP ACT 2606

### **提出時期**

翌年の会合開催日および関連の締め切りは、8月・9月のPBAC会合後に業界に通知する。

主要提出書類の締め切りは、PBAC会合の11週間前（年末・年始は12週間）である。

副次的提出書類は、その後4～5週間まで受け付ける場合がある。副次的事項は、すでに受領した提出書類の数によるが、さらにあとまで受け付ける場合がある。提出前にPBAC事務局に連絡すべきである。

提出書類は期日までに提出し、完成させておくべきである。遅れて提出された資料を提出書類に組み入れたり、協議事項に盛り込んだりすることは保証できない。

### **勧告実施時期**

PBSリストのタイムスケールは以下のとおりである。

事項または措置	PBAC 会合まで (から) の期間
ADEC 勧告や TGA 登録	
主要提出書類の締め切り	11 週間前
副次的提出書類の締め切り	7 週間前
経済小委員会メンバーに ESC 協議事項を提出	4 週間前
スポンサーへの提出書類に関する PES 評価と PBAC 事務局審査	2.5 週間前
経済小委員会の会合	2.5 週間前
PBAC メンバーに PBAC 協議事項を提出	2.5 週間前
スポンサーによる事前 PBAC 論評	1.5 週間前
PBAC メンバーに ESC 報告書とスポンサーの論評を提出	1 週間前
PBAC 会合	
スポンサーに書面で通知	3 週間後
価格設定局の会合	4~6 週間後
大臣・内閣による承認	10~12 週間 (以上) 後
付録への掲載	5 カ月後 (評価等の諸問題が解決された場合に限る)

## 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2部

#### PBAC への提出書類の作成に関する基礎情報

#### 経済評価を必要としない提出書類

##### 副次的提出書類

以下の目的で PBAC に申請する場合は、経済評価は必要とされない。

- a. 価格割増を要求されないか、使用量・比率が小さくなると予想される現行掲載薬物の新しい処方（または力価）を薬剤給付付録に掲載すること（この場合、提出書類の主な目的は、PBS に基づく当該製品の臨床的ニーズの正当性を証明することである）。
- b. 現行掲載薬物の処方 1 回当たりの最大数量の変更を要求すること。
- c. 現行掲載薬物の処方 1 回当たりの反復回数の変更を要求すること。
- d. 制限に関する規定を（用途は変更せずに）明確にすること。

上記 (a) ～ (d) に分類される提出書類は、副次的提出書類の実例である。これらの提出書類は、PBAC による検討に先立って薬剤評価部の評価を受けたり、経済小委員会（ESC）に提出したりする必要はない。副次的提出書類を PBAC 事務局に提出する締め切りは、各 PBAC 会合の 7 週間前である。他の種類の副次的提出書類もありうるので、上記のリストは必ずしも網羅的なものではない。スポンサーは、提出書類の状態について疑問がある場合には、PBAC 事務局に助言を求めることができる。

##### 副次的提出書類のために提供すべき資料のチェックリスト

- a. 提出書類全体（変更を説明・正当化したり、関連期日を詳述したりする簡単な手紙にすぎない場合もある）の写し 2 部
- b. 現行の TGA 承認製品情報の写し 1 部

## 現行掲載薬物の新しい剤型または力価に関する提出書類の場合：

- c. PB11（公式申請書）の写し1部
- d. 販売承認・登録の詳細（入手可能な場合は関連 ADEC 決議も添付）を記載した登録書の写し1部

## 同種医薬品をリストに掲載するための提出書類

すでにリストに掲載されている薬物の同種医薬品（または新銘柄）をリストに掲載する場合は、PBAC への提出書類は必要とされない（PBAC 事務局にはやはり提出しなければならないが、提出書類は薬剤給付部で処理され、PBAC には転送されない）。

## 経済評価が必要とされる提出書類

### 主要提出書類

この文書は主として、以下の目的で薬剤給付諮問委員会（PBAC）に申請するためのデータのフォーマットに関するガイドラインを示している。

- a. 薬剤給付付録に新しい薬物を掲載すること。
- b. 現在制限されている薬物のリスト掲載に関する重大な変更（新しい適応症や制限撤廃など）を要求すること。
- c. 現行掲載薬物の相対的費用対効果を見直し、その治療相対性や価格割増に関する薬剤給付価格設定局（PBPA）への PBAC 勧告を変更できるようにすること。
- d. 価格割増が要求される現行掲載薬物の新しい剤型（または力価）をリストに掲載すること。

上記（a）～（d）に分類される提出書類は、主要提出書類である。これらの提出書類は、PBAC による検討に先立って薬剤評価部の評価を受け、経済小委員会に提出する必要がある。主要提出書類を PBAC 事務局に提出する締め切りは、各 PBAC 会合の少なくとも 11 週間前である。



## 再提出書類

再提出書類はPBACに対し、以前の提出書類の主題となった問題の再検討を求めるものである。新しいデータだけに基づいている場合や、以前に要求した適応症を修正する場合、あるいは比較対照を変更する場合であっても、再提出書類とみなされる。これは、再提出書類に含まれる情報は、PBACの以前の決定を変更する基礎となるものでなければならないからである。

**再提出書類では、以下の側面を強調しなければならない。**

- a. PBACにとっての主要関心事は何か、PBACは再提出書類でどんな問題に取り組むことを要求したか、再提出書類はそれらの問題にどのように取り組んでいるか。
- b. スポンサーが以前の決定に同意しない場合は、何が争点になっているか、再提出書類はそれらの問題にどのように取り組んでいるか。
- c. 再提出書類に記載される新しいデータ、新しい状況、新しい主張、新しいアプローチをすべて明確にすべきである。

争点になっていないことが明らかな以前の情報（例えば薬理学、作用・用途、販売状況、承認適応症）は、再提出書類に記載する必要はない。

## 主要提出書類の作成に関する一般的説明

このガイドラインの目的は、PBACとその経済小委員会が必要とする基礎情報をスポンサーが確認し、一定のフォーマットにできるよう援助するとともに、その事例に最も適した種類の経済評価について指導することである。このガイドラインには可能な限り従うべきだが、提案のレイアウトが最も適切とは限らないため、正当性を証明すれば、一部の薬物においては必要となる逸脱が認められる。スポンサーは、正当性の証明が受け入れられると仮定してはならず、そのような場合には協議すべきである。

このガイドラインは「デスクトップ」分析として提示され、提案されたレイアウトで、一般に利用可能なデータを示している。この分析は、データ収集のために特別にデザインした研究を委託する「実地」分析と区別しなければならない。特にオーストラリアでは、現在そのような研究を利用できるであろうスポンサーはほとんどいない。ほとんどの場合は、デスクトップ分析で十分だろう。それだけでは不十分な場合でも、スポンサーは分析結果を見れば、実地調査でさらにどの分野のデータを集める必要があるか分かるはずである。

ガイドライン全体を通して、質問とデータ要件を赤字(\*)で表示し、関連する説明を通常の字体で示して付録で詳しく述べてある。14 ページの図表は、このガイドラインの論理的な流れを分かりやすく示している。セクション 1 は、提出書類の内容を定め、申請薬剤とその PBS に基づく利用、併用・代替療法に関する説明を求めている。

セクション 2 は、申請薬剤の比較臨床実績に関して入手できる最良のエビデンスを求めている。また、詳細度、ランダム化試験の科学的厳密さ、統計上の適度な厳密さといった要因について指導し、最終的に、ランダム化試験からのエビデンスに基づく予備的経済評価を取り上げる。セクション 3 は、この予備的経済分析に留まらない推定が必要とされるかもしれない場合を説明し、モデル経済評価においてどのように調整することができるかについて説明している。どちらの経済評価も、社会の視点に立っている。セクション 4 は、PBS と政府医療予算の視点に立った財務分析を要求している。

提出書類は、できる限り簡潔かつ有益でなければならない。PBAC とその経済小委員会は、単なる意見よりも科学的に厳密なデータに基づく主張を重視するだろう。ガイドラインに従うよう可能な限り努力すること。適切な科学用語を使うようにし、特殊用語は避けなければならない。

スポンサーは、それぞれの主要提出書類が 3 段階（薬剤評価部による評価、各経済小委員会メンバーによる検討、各 PBAC メンバーによる検討）で評価されることを知っておくべきである。概要は、ESC と PBAC の協議事項表に記載される提出書類をまとめた文書である。提出書類の本文は、個別に綴じた文書とし、主要試験の報告を記載するが、その他の重要性の低い情報は盛り込まない。必要に応じて提出されるその他の補足資料は、主として薬剤評価部が評価する（補足資料とコンピュータ・ディスクに収録される詳しい計算もチェックする）が、PBAC メンバーも請求すれば入手することができる。

したがって提出書類では、概要と提出書類本文とを、また提出書類本文と主要試験の報告、付属資料、技術文書、コンピュータ・ディスクとを、頻繁かつ正確に相互参照できるようにすることが欠かせない。この相互参照は、提出書類を評価・検討しなければならない者にとって役立つ。

## 主要提出書類のために提供すべき資料のチェックリスト

以下のチェックリストを用いて最終的にチェックしたうえで、PBAC 事務局に主要提出書類を提出する。このチェックリストの目的は、提出された各提出書類に基づいて十分に完全な評価を行えるよう保証し、紙を無駄遣いしないようにすることである(\*)。

**下記文書の写し1部を個別に（綴じずに）添付する。**

- a. 提出書類のカバーレター
- b. 公式申請書である PB11（新しい薬物、新しい剤型、新しい力価、新しい価格に対して）
- c. 販売許可・登録の詳細を記載する登録書（入手可能であれば関連 ADEC 決議も添付）
- d. 必要に応じて技術文書（提出書類本文に加えて、適切かつ個別に綴じなければならない）
- e. 必要に応じてコンピュータ・ディスク（マイクロソフト・エクセル・バージョン 5.0 と互換性のあるスプレッドシートも添付）

**下記サンプル2部を添付する。**

- a. 新薬の場合は薬剤プレゼンテーション（例えば、「コンプライアンス」パックや現在リストに掲載されていない種類の剤型。その場合は提出書類の中で、この薬剤プレゼンテーションが当該薬物の臨床・経済実績に及ぼす影響も説明すべきである）

**下記文書の写し3部を個別に（綴じて）添付する。**

- a. 「提出書類を受領できるかどうかの決定に役立つ主な質問に対する回答」と題する文書（下記を参照）
- b. 提出書類の概要（下記を参照）
- c. 現行の TGA 承認製品情報と承認データ（入手可能であれば最新の製品情報案も添付）
- d. その他の参考文献（適切かつ個別に綴じる。参考文献はすべて読みやすくし、英文で記述するか標準的な翻訳を添付しなければならない）

**提出書類本文の写し12部を添付する（セクション1を参照）。**

**提出書類を受領できるかどうかの決定に役立つ主な質問**

以下の質問に簡潔に答えること。これは PBAC 事務局と薬剤評価部が、提出書類を受領できるかどうか決定するうえで役立つ（\*）。

(a) PBS リストへの掲載を申請する適応症は、TGA が承認した適応症（必要に応じて、ADEC が勧告した適応症）に入っているか？

(b) 申請薬剤は、いつ ADEC に勧告されたか？（ADEC の検討を受けていない場合は、登録日を示し、TGA 評価報告書を利用できるかどうか記す）

(c) セクション 1.5 の基準に従って、比較対照の正当性が証明されているか？ 提出書類の何ページで比較対照の選択の正当性を証明しているか示す。

(d) 関連するランダム化比較試験を徹底的に調査したか？ 提出書類の何ページで調査方法を説明しているか示す。

(e) 提出書類の主要臨床エビデンスは、PBS リストへの記載を申請される主要適応症に関係があるか？

(f) 主要臨床エビデンスのバイアスを最小限に抑えるために調査者が講じた措置を評価したか？ 提出書類の何ページに評価を記載しているか示す。

(g) 研究のアウトカムを明確に定義したか？ 報告書の何ページに定義を記載しているか示す。

(h) メタ分析を実施したか？ 提出書類の何ページにメタ分析の方法を記載しているか示す。

(i) セクション 2.8 とセクション 3 またはいずれか一方に必要事項を記入した場合、付録 I に定めるアプローチに従って費用構成要素を図示しているか？ 提出書類の何ページに表があるか示す。

### 主要提出書類の概要に関する説明

概要は 5 ページ以内にまとめる。この概要は PBAC 会合の協議事項表に収録されるため、スポンサーが各 PBAC メンバーと連絡を取り合うための主要手段とみなすべきである。したがって概要では、協議事項とともに各 PBAC メンバーに転送される提出書類の本文に掲載される、主要な側面・問題を明確に説明すべきである。少なくとも、以下の主要な側面のそれぞれに焦点を当てるための詳細を示さなければならない (\*)。

(a) 申請薬剤のオーストラリアでの公認名、ブランド名、販売状況、主要薬理作用

(b) PBS リストへの記載を要求される剤型、力価、パック数量、最大数量、反復回数、調剤価格

(c) PBS リストへの記載を申請する適応症と制限

(d) 推奨される治療

(e) 主要比較対照

(f) 提出書類の主要臨床エビデンスの出所が直接比較ランダム化試験か、共通の比較対照（例えばプラセボやその他の積極的治療）による 2 組のランダム化試験の分析か、それとも非ランダム化研究か。

(g) ランダム化試験の主要臨床結果と、これらの結果に基づいて申請薬剤に最もうまく当てはまるセクション 2.7 のカテゴリー

(h) ランダム化試験からのエビデンスに基づく予備的経済評価における費用分析の主要結果、経済評価の種類、この増分評価の結果

(i) モデル経済評価の実施を進める（あるいは進めない）ことの正当性の証明

(j) モデル経済研究を実施した場合：

(i) 経済評価の種類

(ii) モデルの基礎となる重要な仮定（セクション 3.7 の感度分析で試験）

(iii) モデル評価から得た増分比

(\* ガイドライン全体を通して、質問とデータ要件は赤字ではなく太字で示し、関連のある説明は通常の字体で表示して付録で詳述してある。

## 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

主要報告書本文の写し 12 部を提供する。

PBAC と ESC の各メンバーに PBAC 協議事項表とともに 1 部ずつ、省顧問にも 1 部ずつ支給する。どの写しも以下の要件を満たしていなければならない。

- (a) 適切に綴じること。
- (b) 分かりやすい適切な索引をつけること。
- (c) 一貫したページ数をつけること。
- (d) 費用はすべてオーストラリア・ドルで計算すること。
- (e) 主要臨床試験の報告を収録する付属資料を添付すること。付属資料は、以下の条件を満たさなければならない。
  - (i) 公表論文か、未公表試験に関する調査者の要約、もしくは試験方法と経済評価に利用した成果との適切な詳細であること。
  - (ii) 読みやすいこと。
  - (iii) 英文で記述するか、標準的な翻訳を添付すること。

主要提出書類の本文は、本パートの残りの部分のガイドラインに可能な限り従うべきである。評価を促進するために、必要に応じて本パート各セクションの見出しも利用すべきである。

主要提出書類の本文は、以下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

## 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3部——主要提出書類の本文を作成する：セクション1

### 連邦保健・高齢者介護省アクセス・資金供給部

#### 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

##### 1.1 薬理分類・作用

申請薬剤のブランド名、オーストラリアでの公認名、治療分類を示す。主要薬理作用は何か。どのような剤型（アンプル、バイアル、徐放性錠剤など）、力価、パック数量が、PBSリストへの掲載を申請しているか？（\*）

##### 1.2 適応症

TGA が承認した（または ADEC が勧告した）適応症を明記する。次に、PBS リストへの掲載を申請する適応症を明記する。制限的リスト掲載を求める場合は、申請する制限の文言を示す。一般的リスト掲載を求める場合は、主要適応症を明確にする。

オーストラリア薬物評価委員会（ADEC）が、どの会合で申請の適応症について申請薬剤を勧告したか明記する。治療用品管理局（TGA）がまだ最終承認を出していない場合は、ADEC 勧告に基づいて提出する。ADEC 勧告に基づいて提出する場合、スポンサーは、勧告と最終承認との差異を PBAC 事務局に直ちに通知しなければならない。ADEC が申請薬剤を検討しなかった場合は、オーストラリア治療用品登録簿への登録日を示し、TGA 評価報告書を利用できるかどうか明記する。

PBS リストへの掲載を申請する適応症が、承認された適応症に含まれているようにしなければならない（例えば、最も利益を得そうな患者集団を明確にするために、より範囲を絞ることができる）。複数の適応症について制限的リスト掲載（「制限的給付リスト」「要認可リスト」、または病院の外来部門からの高度専門薬物の配給といったその他の取り決め）を求める場合は、それぞれの適応症についてセクション1～3を個別に提出する。複数の適応症について一般的（非制限的）リスト掲載を求める場合は、主要適応症を明確にしなければならない。主要適応症は、申請薬剤で治療を受ける患者の最大割合を占めると思われる適応症と定義され、セクション4.1への回答で示した推定患者数を基礎とするべきである。通常、この主要適応症についてのみ提出書類が必要とされる。しかし、主要適応症が二つか三つあり、当該薬物の利用において優位を占めると思われるものがない場合は、提出書類で各適応症についてセクション1～3を繰り返すべきである。スポンサーは、疑問があれば PBAC 事務局か薬剤評価部に助言を求めることができる（セクション1.5も参照）。



経済小委員会やPBACのメンバーにとって馴染みのない適応症である可能性がある場合は、情報に通じた素人向けにその病気をまとめた要約を提出すれば役に立つかもしれない。その場合、その病気と現行の管理および管理案について、関連する特徴と予想される影響を2ページ以内で説明する(\*)。

### 1.3 治療の詳細

予想される治療経過は？ 現行のTGA承認製品情報で勧告される投与量、1日当たり投与回数、治療期間の長さ、治療クール予想反復回数を列挙する。

### 1.4 併用・代替療法

治療の中で、そのほかにどのような治療（もしあれば）が申請薬剤とともに処方される可能性があるだろうか？(\*)

それぞれの診断・症状分野について、申請薬剤と併用するために処方される可能性がある療法（特に現行PBS薬物）を列挙する。この中には、申請する治療の副作用を抑えるために利用される可能性のある薬物を含めるべきである。経済評価の対象となる各薬物について、セクション1.3で要求される詳細を示す。

申請薬剤がリストに記載された場合、(a) 適応症の治療に関して、または (b) 現行療法の副作用の治療に関して、目標患者母集団に処方される量が減る可能性があるのは、どのような療法（もしあれば）か？(\*)

申請薬剤で代替される可能性がある療法（特に現行PBS薬物）を列挙する。経済評価の対象となる各薬物について、セクション1.3で要求される詳細を示す。

### 1.5 主要比較対照

代替療法について主要比較対照を明確にし、その選択の正当性を証明する(\*)。

理論上、主要比較対照は、ほとんどの処方者が実際に代替するであろう療法である。実際問題として、これを明確にするのは難しいことが多い。場合によっては、複数の比較対照と比較する必要がある。以下の説明は、適切な比較対照を選択するうえで役立つだろう。

(a) 申請薬剤が、すでに類似薬物がリストに掲載されている治療分類に含まれる場合、一般に主要比較対照は、PBSに基づいて最も多くの患者に処方される類似薬物である。合理的

な例外は、適応症に関して申請薬剤と類似薬物との間に重要な差異がある場合だろう。その場合は、その適応症を治療するために PBS に基づいて最も多くの患者に処方される薬物と比較するのが適切だろう。スポンサーは、疑問があれば PBAC 事務局か薬剤評価部に助言を求めることができる（下記を参照）。

(b) 申請薬剤が、新しい治療分類に含まれているが、治療に他の薬物が広く利用されている適応症に利用される場合、一般に主要比較対照は、その適応症を治療するために PBS に基づいて最も多くの患者に処方される薬物だろう（セクション 2.2 は、申請薬剤と臨床的に主要比較対照の同等品と広くみなされる複数の薬物との比較から、もしくは、主要比較対照と臨床的に申請薬剤の同等品と広くみなされる複数の薬物との比較から得られた関連するエビデンスがあるかどうかについて、さらに詳しく説明している）。

(c) 現在リストに掲載されている薬物の中に利用できるものがない場合、一般に主要比較対照は、標準的な医学的管理である（この中には外科手技や保存的管理が含まれるだろう）。これは提出書類とランダム化比較試験の両方で、明確かつ一貫して定義しなければならない。

特別な剤型（例えば、徐放性錠剤や経口加圧吸入）で薬物を供給する場合、上記の基準に従って選択した主要比較対照は、可能であれば類似の処方にすべきである。

処方慣行は急速に変化する可能性があり、合理的な根拠に基づいて最初に主要比較対照に選ばれた薬物が常にそうであるとは限らない。第 3 相試験や第 3b 相試験の中で主要データを得るために長いリードタイムが必要とされることを考えれば、特にその可能性が高い。提出書類の評価に当たっては、この点を見込んでおかなければならない。スポンサーは、最終的に PBAC に提出するためにそのような試験をデザインする場合、PBAC 事務局や薬剤評価部の助言を求めることができる。当初の予想とは異なる適応症が承認されるなど、重要な要因が変化する可能性があるので、PBAC が最終提出書類の検討に当たって、この助言に従うことは保証できない。この助言に基づく試験を組み入れた提出書類は、評価のために受け付けられるが、最初に選んだ比較対照を共通基準薬とする 2 組のランダム化試験に基づく分析を提示する必要があるかもしれない（詳しくはセクション 2.5 を参照）。

利用可能な唯一のランダム化比較試験が、上記 3 区分に従って選んだ主要比較対照と異なる比較対照を利用している場合（例えば、適切な比較対照が異なる外国で実施された試験の場合）も、外国の比較対照を共通基準薬とする 2 組のランダム化試験に基づく分析を提示する必要があるかもしれない。

専門家委員会や調査を利用して主要適応症や主要比較対照を明確にした場合については、付録 0 に必要な背景情報に関する詳しい説明がある。

## 1.6 申請薬剤と主要比較対照との差異

申請薬剤と主要比較対照の間には、適応症、禁忌、注意、警告、有害事象の面で、主にどのような差異があるか？ (\*)

これらは一般に、それぞれの薬物について現行の TGA 承認製品情報を比較して決定することができる。

(\*) 本ガイドライン全体を通して、質問とデータ要件は赤字ではなく太字で示してある。

## 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3部——主要提出書類の本文を作成する：セクション2

### 連邦保健・高齢者介護省アクセス・資金供給部

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

#### 2.3 ランダム化比較試験のバイアスを最小限に抑えるために調査者が講じた措置の評価

セクション2.2に対応して列挙したランダム化試験のそれぞれのバイアスを最小限に抑えるために、どのような措置を講じたかに関する情報を提供する（\*）。

付録Bは、それぞれの試験を説明するために利用する3組の方法論的主題と、やはり各試験に関して答えるべき補足的質問を列挙したものである。

#### 2.4 ランダム化比較試験の特徴

セクション2.2に対応して列挙したランダム化試験のそれぞれについて、その他の特徴に関する情報を提供する（\*）。

付録Cは、それぞれの試験に関して答えるべき質問をいくつか列挙したものである。

#### 2.5 ランダム化比較試験の分析

セクション2.2に対応して列挙したランダム化試験のそれぞれのアウトカムをどのように分析したか明記する（\*）。

付録Dは、各試験についてどのような種類の情報を提示すべきかの説明に役立つ一連の質問を列挙している。付録EおよびFには、QOL測定および経済的なインプットとアウトプットそれぞれを明確にすることについての追加的な手引きが示されている。

付録Gでは、メタ分析が適切かどうか、適切な場合は、どのような方法が適切と考えられるかの判断について説明している。利用した統計的プーリングと統計試験の方法について説明し、それが正当であることを証明すべきである。セクション2.2に対応して列挙した試験のいずれかをメタ分析から除外する場合は、その理由（例えば、バイアスを十分に最小化できない理由）を説明し、それぞれの除外がメタ分析全体に及ぼす影響を検証すべ