

ント、予防医療などの各種の革新的な医療コスト低減手法を導入してそれに応えた。これらの努力は、マネジドケアの開発と導入につながっている。

マネジドケアとは、医師(主治医)以外の支払い者(保険者)などによって「医療が管理化」されたものと定義され、端的には、保険者が医療サービス供給者および需要者の行動を統制・調整することとで医療サービスの質と費用とをコントロールするシステムである。マネジドケア型の保険プランにおける受療や診療内容のコントロール手段は、それぞれのプランによって異なるが、一般には、支払い方式の定額化、契約医療機関以外での受診制限、診療ガイドライン、入院前審査、退院計画、ケースマネジメントなどが用いられる。

また、医薬品については、ジェネリック医薬品の使用促進、薬剤利用審査(drug utilization review DUR)や薬剤利用評価(drug use evaluation DUE)およびフォーミュラリ管理(formulary management)などが行われている。また、マネジドケア組織(Managed Care Organization MCO)および病院には、フォーミュラリ管理のために医師、薬剤師、看護婦、経営者などからなるP&T委員会(Pharmacy & Therapeutic Committee)が設置されており、製薬企業から申請される薬剤のフォーミュラリ収載についての可否検討や、フォーミュラリの定期的な見直し、薬剤使用の監視などを行っている。

フォーミュラリには、P&T委員会 が検討・承認をおこなった薬剤が列挙されているが、これにもいくつかのタイプがあり、単に処方医師に対する推奨リストである open formulary から、収載品のみ償還対象とする closed formulary まで様々である。Closed formulary の場合には、医師が処方できる薬剤は、緊急利用などの特例を除きフォーミュラリに掲載されているものに限定され、それ以外の処方には事前承認が必要とされるか患者の自費負担となる。

病院やMCOのP&T委員会は、有効性と安全性に関するデータ、薬剤経済に関するデータを使って、それぞれの患者に適した新薬を選択する。フォーミュラリ収載可否の決定のためにP&T委員会が利用するデータが記載されている書類一式はモノグラフとよばれる。

MCO、病院、医師グループはすべて、薬剤リストの作成と管理にP&T委員会を利用して。たとえば、Kaiser Permanente や退役軍人保健援護局(Veterans Health Administration VHA)病院などは、それぞれの組織の内部の薬剤選択を精力的に管理する機会に焦点を当てた、革新的な統合された医療提供システムをもっており、薬剤経済分析を採用している。それぞれが、薬剤師の役割を単に患者に出す薬を調剤することから、医師と患者の両方のためになるように薬剤を分析したり、選択したり、適切に投与したりする際のより同等な立場のパートナーへと拡大してきた。さらに、

両組織の薬剤師は、より効果的に薬剤を使用する革新的なプログラムに加わっている。

P&T 委員会のその他の代表的な責務には、その組織における有害反応のモニタリング、処方／調剤／投与手順の確立と監視、新薬の臨床試験を審査する IRB とのやり取りも含まれている。米国で薬剤師の機能が重要性を高め影響力を強めているのは、P&T 委員会の活動の複雑さが増すことにより薬局部門の作業がますます重要になっているからである。

AMCP は、薬剤師によるマネジドケアの概念を推進させることを目的とし、薬剤師を対象にした生涯教育の提供、研究を行う組織である。薬剤経済学をはじめとするマネジドケアに必要とされる知識をもち、訓練を受けなければ、薬剤師は病院や小売薬局で薬を調剤するというありきたりの役割に限られてしまうが、十分な訓練を受ければ、臨床薬学の実践を通して慢性病のファーマシューティカルケアや、DUR、患者安全プログラムの計画と実施、患者教育、病院、MCO、PBM のフォーミュラリ作成、医療保険給付プログラムの設計などの役割を通じて、医師や病院、医療プランの幹部と同等な立場で仕事ができるようになる。

近年、AMCP は、不十分な薬剤経済学的分析が不適切なフォーミュラリの作成につながるおそれがあることを懸念し、1999 年に、米国保険システム薬剤師会 (The American Society of Health-System Pharmacists ASHP)、全

米品質保証委員会 (National Committee for Quality Assurance NCQA)、米国医師会 (American Medical Association AMA)、退役軍人保健援護局と共に、健全な薬剤フォーミュラリの原則 (Principles of a Sound Drug Formulary) を 2000 年に刊行した。

「原則」では、経済的な検討について、フォーミュラリに関係する決定は「安全性、効力、治療上の必要性が確認された後にコストの諸要素」をもとにしなければならないとしている。さらに、薬のコストの評価は、全医療コストに対する影響をもとにしなければならないと指摘している。「原則」では、薬剤経済分析の重要な役割を規定しているが、それは、薬剤経済分析が質の高い医療の提供の一部として利用される場合についてであって、決して質の低い医療を安く提供するためではない。すなわち、金銭的な影響への考慮は、質の高い医療の提供の一部としてコスト管理をおこなうためにのみ利用すべきであり、金銭的な影響が医学的に必要な治療の提供の妨げになってはならないとしている。

また、AMCP はさらに 2000 年に「フォーミュラリ掲載のためのフォーマット」の第 1 版を、2002 年に第 2 版を発行した。これは、P&T 委員会が薬のモノグラフの作成に使う情報を製薬会社に要求するための指針として役立っている。これは、次のセクションで構成された、フォーミュラリ掲載提案で提出する書類一式になっている。

どれだけの P&T 委員会が AMCP の指針、提案書類一式、スケジュールを実際に利用しているかは不明だが、AMPC において 300 人以上の薬剤師がその利用の仕方の訓練を受けたとされる。AMCP は、これらの指針と訓練によってフォーミュラリ掲載のプロセスが単一の製品の調達価格とリベートを中心としたものから国民の健康と福祉に対するフォーミュラリの影響を中心としたものへと移行するものと期待している。これらのすべての手続きの透明性も、何十億ドルもの規模の製薬業界と管理医療業界における金銭的な刺激の不適切な利用に関する疑惑を払拭するのに役立つと考えられる。

「健全な薬剤フォーミュラリの原則」

- ・フォーミュラリの決定は、適切で、安全で、費用対効果の高い薬剤治療を達成する科学的な検討と経済的な検討に基づく。
- ・フォーミュラリには、薬剤選択、DUR、および処方、調剤、投与におけるベストプラクティスを達成するためのアウトカムモニタリングやその他の手段が含まれる。
- ・医師、薬剤師、他の医療専門家で構成される P&T 委員会は、フォーミュラリの作成とメンテナンスおよび薬の使用に関する方針の確立と実施を含むフォーミュラリシステムを管理する。
- ・医師や他の医療専門家は、フォーミュラリシステムを監督する立場にある。
- ・フォーミュラリシステムは、P&T 委員会のメンバーによる利害の抵触と情報開示に対処する独自の方針を設定するか、あるいは他の組織の妥当な方針を遵守する。
- ・フォーミュラリシステムには、支払者、医療従事者、患者を対象にしたそれぞれの役割と責任に関する教育プログラムが含まれていなければならない。
- ・フォーミュラリシステムには、医学的に必要な場合に医師や他の処方者がフォーミュラリに掲載されていない薬を使うための、十分に明確に定められたプロセスが含まれていなければならない。

フォーミュラリ掲載のためのフォーマット

1. 指針の構成
 - (1) 疾病と製品の情報
 - (2) 裏付けとなる臨床面と経済面の情報
 - (3) コスト効果と予算影響モデルの報告
 - (4) 製品の価値と全体のコスト
 - (5) 裏付け情報：転載記事、関係書目、チェックリスト、電子メディア、補遺
2. 書類提出の手順(抜粋)
 - (1) 製薬会社は、自社製品の状況について絶えず MCO に知らせ続けているはずなので、薬局スタッフは、予想される新製品発売の約 6 カ月前に、製薬会社に対して上記の内容の情報を要求する。
 - (2) 製薬会社と薬局スタッフは、要求されたデータの提出を検討するために提出前会議を開き、期限を定め、データの秘密性、経済モデルの仮定、その他に関する問題があればそれらを解決する。
 - (3) 製薬会社は、製品審査の少なくとも 2 週間前に、薬局スタッフに対して紙と電子的な形態の両方の報告書を提供しなければならない。
 - (4) 薬局スタッフは、P&T 委員会の審査に供する製品のモノグラフを作成する前に、データを見直して必要があればデータの説明を要求する。
 - (5) 臨床薬剤師は、すべてのデータおよびフォーミュラリ掲載に対する賛否両論を含むモノグラフを作成する。
 - (6) 掲載の可否が決まったら、P&T 委員会はその決定、却下や制限の根拠、異議申立のための標準手続きを製薬会社に知らせる。

(参考文献：Gregg L. Mayer, Hakugi Kiyono, Hiroyuki Sakamaki: The Use of Pharmacoeconomics in the US Healthcare System and Its Implications for Japan. 医療経済研究 Vol 14: P.41-70, 2004)

(2) アンケート結果から見る薬剤経済学の利用と標準化の現状と今後の展望

今回のアンケート調査によって、医療機関における薬剤経済学の利用状況が明らかとなった。結論から言えば、医療機関での薬剤経済学の利用は、進んでいるとはいいがたい。すなわち、医療機関で実際に薬剤経済学研究に携わったことがある施設は 5.9%に過ぎず、勉強会を開催したことがあるものを含めても 13.9%程度の経験があるに過ぎない。これに対して、製薬企業から薬剤経済学データの提供を受けたことがある医療機関が約 3 割あり、医療機関側の状況と比べると、製薬企業側の薬剤経済学データの利用は、やや進んでいるといえる。しかし、医療機関側がほとんど薬剤経済学の研究や勉強会を行っていないことを考えると、企業から提供を受けたデータを正しく解釈したり批判的吟味ができているとはいいがたい状況にあると考えられる。

こうした薬剤経済学への理解の程度の問題はあるものの、製薬企業から提供されるデータへの問題点について調査を行った。結果的に、信憑性が乏しいとする意見は 27%であり、むしろ、結果が自院に当てはまらないことを問題視する意見 38.8%を下回っていた。

一方、薬剤経済学への関心は、自分で分析するには至らないとする意見が大半ではあるが、関心があるとする意見が 74.4%あり、また、医薬品採用における関心事項でも、価格と有効性・安全性のバランスが 51.9%あった

ことなど、薬剤経済学への関心は高まっていると考えられる。特に薬剤経済学へ関心を持つ傾向は DPC を導入している施設において高く、今後の DPC 普及によって薬剤経済学の利用も高まることが予想される。

一方、薬剤経済学研究の標準化については、データソースやモデル作成など一般的事項については、提出の期待度が高いが、自院に当てはめて分析を求める割合は、若干低かった。恐らく院に当てはめて分析を実施するには、それに合わせてデータを提供する必要があるものの、実際にはデータ提供の体制が整っていないことが、そこまでの分析を要求することを躊躇させた結果と推測される。しかしながら、分析にあわせたデータ提出をどのようにするかが今後の医療機関の視点での薬剤経済学分析の標準化の鍵になると考えられる。

一方、薬剤経済学の利用を保険収載、公定価格設定における薬剤経済学の利用について考えてみると、米国の保険者、特にマネジドケアは、医療費コストへの影響を考え、フォーミュラリへの収載を考えているように、日本の薬価表(ある意味で、国家フォーミュラリ)への収載にも薬剤経済学を用いることが可能である。ただし、日本では、新薬として承認された製品のうち推奨製品のみを薬価表に収載するという方法を考えることは困難であり、国レベルでは価格設定の参考に薬剤経済学を用いることになるであろう。支払者が薬剤経済学を用いるには、保険者がそれぞれに独自

の推奨品目を記載したフォーミュラを持つことが必要である。この場合、医師の処方には保険者が介入することであり、米国のマネジドケアのように、日本の保険者は、現在より力をもつことになる必要がある。

日本の保険給付は出来高払いであり、個々の医療機関においては、医療費削減についてのインセンティブが働きにくいとの特徴があった。そこで、医療費全体のコントロールには支払い者や国のレベルでの薬剤の経済評価の実施が求められるが、近年のDPCの導入など、定額制の保険給付の拡大のもとで、日本における医療現場での薬剤経済学評価の重要性は増している。

薬剤経済学研究を医療機関の視点で実施する場合、AMCPガイドラインのような形で詳細に規定することは、データ収集の可能性を考えると現実には困難であると考えられる。しかしながら、薬剤経済学研究の質とともに、利用可能性を高めるためには、なんらかの形で標準化を行うことも必要である。わが国の医療現場でのデータ収集ができない場合、海外データの利用も含め、どのように補完することがより適当であるのかなども考えなければならない。

E. 結論

自院での事例に当てはめた分析の提出を希望する施設が50%を超えているのに対し、その分析を行うためのデータ提出ができる体制

がない病院が70%あり、ニーズと現状との乖離が明らかとなった。薬剤経済学研究を医療機関の視点で実施する場合、AMCPガイドラインのような形で詳細に規定するためには、データ収集方法をどのようにするかが薬剤経済学分析の標準化の鍵になると考えられた。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1.論文発表

2.学会発表

H. 知的所有権の取得状況の出願・登録状況

1.特許取得

なし

2.実用新案登録

なし

3.その他

なし

資料 1

平成18年2月13日

薬局長
薬剤部(科)長 各位

社団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会
医療経済研究機構
坂巻 弘之

医薬品の費用対効果に関する研究(薬剤経済学)の利用可能性についての アンケート調査ご協力をお願い

謹啓 時下ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。

早速ながら、現在、平成17年度厚生労働科学研究費 政策科学推進研究事業「医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のためのエキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究」(主任研究者：鎌江伊三夫教授、神戸大学都市安全研究センター 都市安全医学)を実施しております。

本研究の目的は、近年、国際的に制定の動向が加速されている「薬剤経済学」(医薬品の費用対効果に関する研究)のための評価ガイドラインのわが国での策定へ向け、専門研究者間の共通認識コンセンサスを確立し、医薬品政策での利用に関する提言を行うこととなっています。

しかしながら同ガイドラインの目的は諸外国を見ても様々であり、わが国でも多方面からの検討が必要です。また、近年、医療機関の経営効率化は重要な課題となっており、医療経営においても医薬品に関する経費削減が求められる傾向にあるものと考えられます。こうした環境の下、経費削減が医療の質を低下させることがないよう、合理的な医薬品選択を行うことも薬剤師の役割としてより重要となっています。

そこで分担研究者(坂巻)は、医療機関経営の視点から薬剤経済学研究のあり方を検討することを目的として、社団法人日本病院薬剤師会様のご協力を賜り、アンケート調査を実施させていただくこととなりました。

つきましてはご多用中恐縮ですが、調査票にご回答の上、平成18年2月27日(月)迄にファックスにてご返信いただけますようお願い申し上げます。

ご回答いただきました結果の集計は統計的に処理いたしますので、貴医療機関の個別情報をそのままの形で外部に出したり、本調査目的以外に利用したりすることはございません。また、ご協力頂きましたことによってご迷惑をおかけすることは一切ございません。

調査の趣旨をご理解の上、ご協力を賜りたく重ねてお願い申し上げます。

謹白

[この調査についてのお問い合わせ]

社団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会
医療経済研究機構 研究部 坂巻
〒105-0003 東京都港区西新橋 1-5-11
TEL: 03-120-xxx-xxx (フリーダイヤル)
FAX:03-3506-8528

資料 2

ファックス返送先： 03-3506-8528 ※ご記入後このままご返送下さい。

医療経済研究機構 坂巻 行

医薬品の費用対効果に関する研究(薬剤経済学)の利用可能性についての調査

Q1.施設に関する事項

Q1.1 所在地(都道府県名)	_____ 都・道・府・県			
Q1.2 病院区分	1 DPC導入病院 (特定機能病院)	2 DPC試行的適用病院	3 DPC調査協力病院	4 左記以外
Q1.3 許可病床数	_____ 床	うち一般病床数	_____ 床	

Q2. 薬剤部の医療機関運営・経営への参画状況

Q2.1 クリニカルパス(以下「CP」という)の導入状況	1 作成・導入している	2 作成・導入していない	3 その他 ()
Q2.2 施設全体での導入稼働	1 1~9種類	2 10~49種類	3 50~99種類 4 100種類以上
Q2.3 CP 作成における薬剤師の役割 (複数選択可)	1 薬剤選別時の有効性・安全性データの提供	3 薬剤選別時の費用と効果との関係(費用対効果)データの提供	5 CP作成に全く関係していない
Q2.4 医薬品採用において関心のある項目 (複数選択可)	1 有効性・安全性・治療上の位置づけ	3 価格と有効性・安全性のバランス	5 ジェネリックへの変更
Q2.5 薬剤師の経営への参画 (複数選択可)	1 経営会議のメンバーである	3 傷病別医療費と薬剤費内訳データを提出	5 その他 ()

Q3 薬剤経済学データの利用状況 (薬剤経済学とは、医薬品を使うことに伴って発生する費用と効果との関係を分析するものです。)

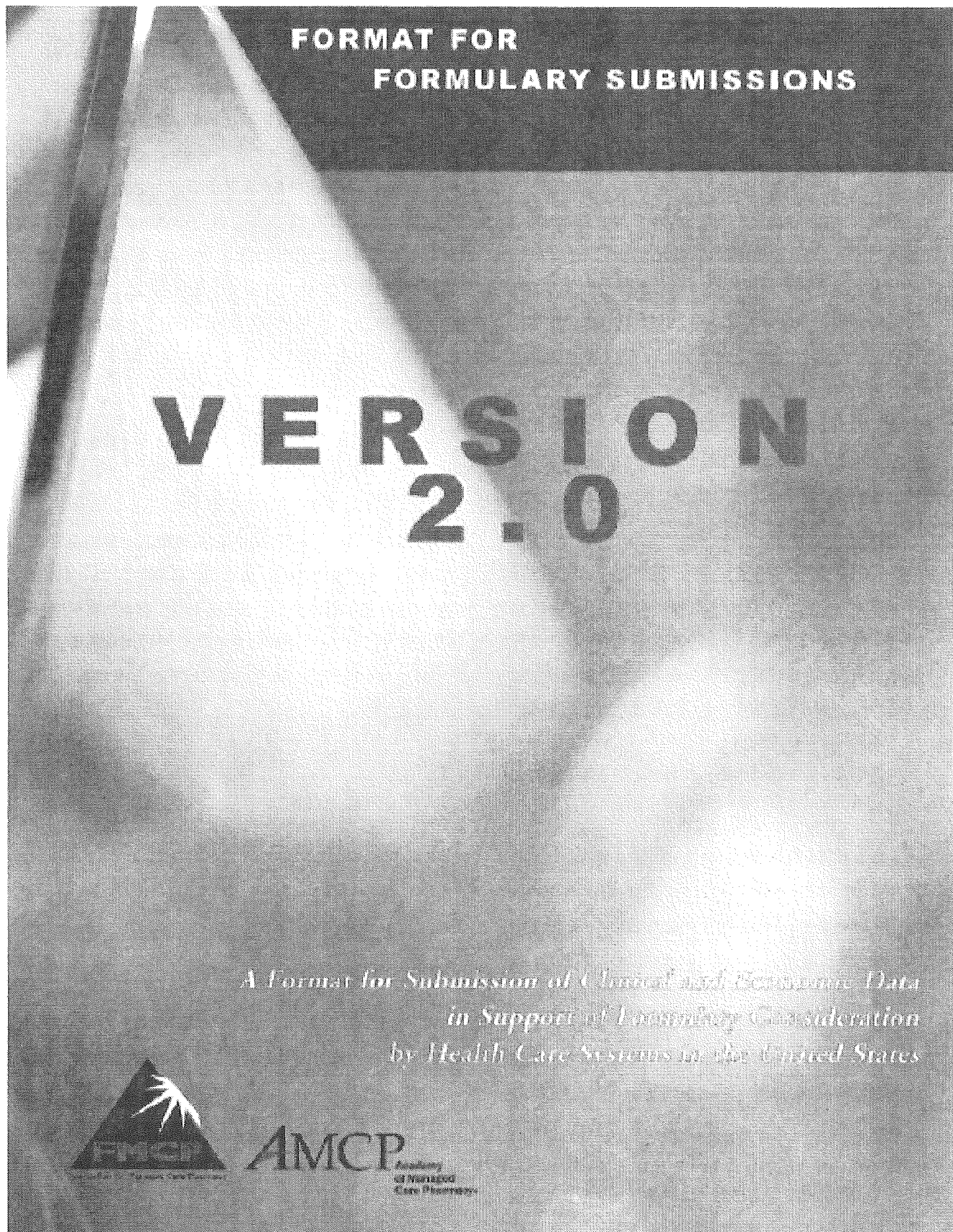
Q3.1 自院での薬剤経済学に関する研究経験等	1 研究を行ったことがあり、薬剤師も研究に参加した	3 研究を行ったことはないが勉強会を開催した	5 その他 ()
Q3.2 製薬企業から販促資料として薬剤経済学データの提示を受けた経験	1 ある	2 ない	3 わからない
Q3.3 ある場合、その内容 (複数選択可)	1 当院病棟での入院総医療費削減	3 管理や投薬にかかわる費用の削減 (人件費や冷蔵庫等の設備費用など)	5 入院期間の短縮
Q3.4 製薬企業からのデータの問題 (複数選択可)	1 信憑性が乏しい	3 結果が自院にあってはまらない	5 特に問題は感じない
Q3.5 薬剤経済学データの利用の有無	1 利用した (Q3.6, Q3.7をご回答下さい)	2 利用したことはない (Q3.8へお進み下さい)	3 わからない (Q3.8へお進み下さい)
Q3.6 利用したデータ (複数選択可)	1 製薬企業から提供を受けたデータ	2 自院で実施した分析データ	3 公表された文献の分析結果 4 その他 ()
Q3.7 利用目的 (複数選択可)	1 医薬品採用	2 CP 作成	3 その他 ()
Q3.8 今後の薬剤経済学研究への関心	1 きわめて関心があり、実際に自院で分析してみたい	3 あまり関心はない	5 その他 ()

Q4. 医療機関の立場からの薬剤経済学研究の標準化

製薬企業から提出される薬剤経済学データについて、以下のデータの必要度について考えに最もあっている番号に○をお付けください。

	必須である	できれば提出してほしい	あまり必要でない	不要	わからない	当院では該当しない
Q4.1 薬剤経済学分析に用いたデータソース	1	2	3	4	5	6
Q4.2 モデル作成の手順と妥当性の根拠	1	2	3	4	5	6
Q4.3 分析の対象とした患者集団	1	2	3	4	5	6
Q4.4 QOL への影響とQOL の計測方法	1	2	3	4	5	6
Q4.5 費用の種類ごとの分析結果	1	2	3	4	5	6
Q4.6 長期 (2年以上) での分析結果	1	2	3	4	5	6
以下は自院に適合させた分析結果						
Q4.7 自院の CP での分析結果	1	2	3	4	5	6
Q4.8 自院の患者集団での分析結果	1	2	3	4	5	6
Q4.9 自院の費用 (コスト) での分析結果	1	2	3	4	5	6
Q4.10 自院で汎用している薬剤を対照とした分析	1	2	3	4	5	6
4.11 上記 Q4.7~Q4.10 について分析に必要なデータを提出することは可能ですか？	1 提出できる体制にある。	2 分析すれば提出できる	3 提出できる体制にはない	4 わからない	5 その他 ()	

ご協力ありがとうございました。平成 18 年 2 月 27 日 (月) までにご返送下さい。



【日本語試訳版】

謝辞

マネージドケア薬学会(AMCP)と、マネージドケア薬局財団(FMCP)は、この貴重な薬局ツールの開発に、その専門知識を発揮し、長時間コミットして下さった多くの方々に、心から感謝する。

2000年10月に発行された、AMCPの「フォーミュラリー申請の様式」第1版は、適正なフォーミュラリー決定という複雑な仕事に挑戦した経験を持つ有能な著者たちの、3年にも及ぶほとんどが無償の協力によって成し遂げられた：ジョゼフ・グリカー氏(ファルマシア社)、ポール・ラングレー氏(3Mファーマシューティカル社)、ブライアン・ルース氏(MEDTAP社)、アラン・ライス助教授(バルチモア大)、ショーン・サリバン教授(ワシントン大)

「様式」は、ドワイト・ピート・フラトン氏(レジェンス・ブルーシールド社)、デル・マーサー氏(プライムセラピューティク社)らの先駆的な業績なくしては実現し得なかつただろう。彼らのマネージドケア組織における合理的な薬剤選択に必要な要件を明確にする努力は、本書で申請資料に載せる項目を選択する上で、実質的な基礎を提供してくれた。このガイドラインは、直接にも間接にも彼らの努力という多大な貢献に負っている。

保険医療機関や製薬企業で「様式」を導入しようとする努力の結果、2002年の春までには、国中のマネージドケア組織や、PBM会社、退役軍人省、そしていくつかの病院と州メディケイド庁の求めに応じて、ほとんどの主要な製薬企業が、その製品の申請資料を「様式」に基づき作成するようになっていた。この時点で、FMCPは、サリバン博士に「様式」の改訂に指導的な役割を担い、第1版の出版以来、マネージドケア組織の薬剤師、その他の医療関係者、学会、製薬企業から受け取った何百ものコメントに対して応えることを依頼した。学会と財団は、サリバン博士に、彼の「様式」への継続的かつ情熱的な支援と、「根拠に基づく決定」に対する疲れを知らない献身に心から感謝する。

第1版で執筆を担当した多くの専門家達に加え、フォーマット改訂委員会のメンバーは、専門家による査読に協力いただき、サリバン博士にとっても貴重な助力を頂いた。我々は、賢明な助言、建設的なコメントを頂いた方々にも感謝する：ケリー・チトウッド・ダクナー氏(グレート-ウェストライフ社)、ジョゼフ・グリカー氏(ファルマシア社)、デル・マーサー氏(プライムセラピューティク社)、マーシャ・ムーア氏(アドバンス PCS社)、ピート・ペンナ氏(パートナー・フォーミュラリーリソース社)、そしてナンシー・ストーカー氏(ブルーシールド オブ カリフォルニア)。

学会と財団は、2001年5月から2002年4月まで、FMCPプログラムダイレクターとして精勤していただいたフォーミュラリーリソース社のピート・ペンナ氏に深く感謝する。「様式」が保険医療機関と製薬企業で広範に採用されたのは、彼の長年にわたるPBMでの経験、精緻な観察力と、根拠に基づく意志決定形成過程が患者の健康成果の向上のため不可欠であるという信念への継続的な献身、に依っているのである。

背景

マネージドケア薬学会(AMCP)は、「申請の様式 Format for submissions (以下「様式」)」を2000年10月に発表した。AMCP 指導部とその委員が、これらのガイドラインの作成に取り組んだのは、医薬品、生物学的製剤、およびワクチンの使用の増加が適正なものか、新製品の導入が臨床的、経済的な価値を被保険者にもたらすか保証できるようにしたいという要請に応えるためであった。これらの要請を満たすために、本学会は次の手段が必要であると結論した。すなわち、(1) フォーミュラー作成のためには有効性、安全性、有用性、経済的な評価などが統合される必要があるという概念を広める手段、(2) 製薬企業が製品の使用を支援するために保険医療機関に直接情報を提供する一貫した、かつ直接的な方法、(3) 費用構造を分析し、単純な支出の抑制が医療費全体の抑制にはつながらないことを示すことができる手段である。

「様式」の発表以来、マネージドケア薬学財団(FMCP)はその普及の先頭に立ってきた。AMCP での講演やフォーラムの開催、その他専門組織での全国会議やカンファレンス、ニュース紙への論文投稿、そして数多くのセミナーを通じて、保険医療機関の薬剤師、製薬会社の社員に「様式」の適切な使用方法について教育を行ってきた。その結果、「様式」は全国的な知名度を得て、好意的にも、批判的にも注意を向けられるようになった。中でも、「様式」の保険医療機関と製薬産業への普及は、AMCP や FMCP の期待以上であった。過去2年間にわたり、保険医療機関の間に草の根的なネットワークが発達し、これが「様式」の採用を、最初にマネージドケア組織やPBMで、近年には病院や統合医療組織、州のメディケイド担当部署、国防省などに働きかけたのである。「様式」の採用が浸透するにつれ、製薬企業も、患者層別データの発表様式を標準化するようになってきた。

「様式」は、2つの目的の達成のために、高い客観性を確保するよう設計されている。第1に、保険医療機関で評価する人々、究極的にはP&T委員会が得る

ことのできる情報の、適時性、視点、質、関連性を向上させること。しかしながら、保険医療機関はその利用が薬剤費の削減に直結すると期待すべきでない。とりわけ「様式」が特徴的なのは、保険医療機関が、製薬企業に、「必要最低限以上の要請」、すなわち、ある製品が特定の患者集団や保険医療機関にもたらす総合的な臨床上的実用性、価値を評価するために、必要な全ての臨床的、経済上の情報を要請するツールとして利用できる点である。この「必要最低限以上の要請」に応えるためには、製薬企業は、公表の有無にかかわらず全ての研究結果、FDAに承認された適応症ばかりでなく考えられ得る適用外の使用についての情報も提出することが求められる。その結果、過去には得ることの難しかった情報へのアクセスが改善され、製薬企業にとっても、その様なデータを、FDAの規制の範囲内で提出することが可能となる。「必要最低限以上の要請」についてFDAによる明確なガイダンスは存在しないが、FDAのスタッフは将来そのようなガイダンスを発行する意図があることを繰り返し述べている。その間の方針についても、「①適用外使用についての情報提供は「必要最低限以上」であり、自発的に行われるものであること、②情報が誤ったり、誤解を招くものであってはならないこと、③企業が責任を持って、情報の受け手ごとにカスタマイズすること。」とFDAスタッフは明言している。

世界中の医療従事者と保険医療機関は、割り当てられた資源以上の医療サービスの提供を要請される環境の中で、優先順位を付けようと日々、努力している。広く世の中に受け入れられている、合法的かつ公平な分配モデルが無い現在は、医療従事者は、何が競争する医療ニーズへの公平な資源分配を実現するかについて合意を得るには、得られる中で最も妥当と考えられる根拠に基づくしかない。例えば、特定の医療行為について得られる安全性、有用性、関連性についての情報が一致していないために、フォーミュラーの決定が、不明瞭な状況下でなされなくてはならないことがしばしばある。そのような場合、Gibsonらの言うように、「寄って立つ原則について合意がない状況では、優先順位付けの問題は、手続き上の公平さの問題とな

り、合法的な組織による公平な手続きに依存するようになる。」「様式」は、P&T委員会の得る情報の適時性、視点、質、関連性を向上させることによって、保険医療機関が特定の製品の影響度について評価する能力を強化する。

更に、ある製品の使用による保険医療機関への影響度を評価するために得られたデータは、P&T委員会が別のフォーミュラリーを採用した場合の治療成果と保険医療機関全体への経済的な影響を評価する能力も高めることになる。しかしながら、この情報は更に他の価値基準の文脈でも判断されるべきである。すなわち、平等、社会正義、個人の健康と集団の健康、「救済ルール」、そして民主的な意志決定などである。更に、各保険医療機関における優先順位は、図1に示すように、数多くの要因によって影響を受ける。

2番目に、「様式」は、保険医療機関の薬剤師によるデータの取得とレビューの過程を合理化する。これまでのフォーミュラリー決定過程では暗黙とされていた証拠の基準を明確に規定することにより、製薬企業に期待されている情報の正確さと様式について一貫した指示を提供する。更に、標準化された様式によって、医療スタッフが受け取った情報が完全であるか公式に判定できるようになり、その保険医療機関での文献検索や分析の結果を追加することも容易になる。重要なことは、推奨された様式での情報の提供はフォーミュラリーへの収載を保証するものではないことを製薬企業は、理解すべきである。申請資料とその受理に関する議論は、提供される情報の質と様式を改善するためのものであり、承認を保証するものではない。

効果的なフォーミュラリー審査には、保険医療機関の協力のもと、製薬企業によって作られた正確かつ完全な製品に関する資料が必要である。従って、「様式」の実践には、保険医療機関と製薬企業の両者が資源を投下することが必要であるし、医薬品の評価に必要な保険医療機関と製薬企業の協力体制を、実現するための条件について、考え方が共有されていることが必要である。

成功する保険医療機関での「様式」の実践には次の条件が必要である：

- a) プロセスの実現を支える、ヒト、技術(IT)、金。これには経営陣とP&T委員会の協力も含まれる。
- b) 全てのスタッフのコミットメント。
- c) 「様式」の要請する条件について、製薬企業側の代表への的確な伝達が行われること。
- d) フォーミュラリー審査で、提出されたデータを解読し、統合できる保険医療機関の薬剤師の存在。
- e) 医療スタッフヘデータや経済モデルについて説明する機会を製薬企業の代表が持つこと。

保険医療機関によっては、P&T委員会へ提出する前に、「様式」を製薬企業から得たデータを厳格に鑑定する際にも利用することができる。臨床情報の厳格な評価に加え、審査には、薬剤経済学の訓練を受けた人物による経済データの評価も加えられるべきである。医療経済情報を評価するために、保険医療機関は論文投稿のツール(例えば、BMJで報告されているような著者と審査者へのガイドライン)も利用できる。保険医療機関にとって報告の質と網羅性を測る基準のチェックリストとなるだろう。

「様式」の使用により、製薬企業は、新製品の価格を、保険医療機関にとって総合的な価値という観点から正当化する機会を持つことになるだろう。更に、企業の科学者やコンサルタントは、正当な科学的枠組みの中で、既存の治療法に対する自社製品の広範な価値についての追加の情報(例えば、患者満足度、間接費、非医療コストの影響度など)を提供する機会を得る。従って、製薬企業が、適切な臨床データと経済的な影響度に関する情報を提供する責任は、むしろ増大する。必要とされる経済学的なデータは、保険医療機関の患者層に適用でき、保険医療機関全体についてフォーミュラリーの変更により生じる臨床の結果と資源消費、費用についての影響度を測ることのできる広範なものでなくてはならない。なお、「様式」は経済評価

の方法を特定するものではない。申請者の責任において、適切な手法と、データソースを利用すべきである。

既にオーストラリア、カナダ、英国およびその他の国々では、保険償還や薬価算定、フォーミュラリー設計の際、同じような要請に応えるために、製薬企業は自社製品について、有効性、安全性、費用への影響度について包括的な報告書を提出することになっている。「様式」の要求する項目は、これらの要請を反映したものであり、製薬企業に、分析手法が明確になるだけ十分詳細な製品情報の提出を要求している。しかしながら、「様式」は、固定しておらず、動的なプロセスであると理解すべきである。更なる情報の標準化は、申請の質の継続的な改善につながり、保険医療機関薬剤師に過去には得られなかった情報が提供することになるだろう。

AMCP は、標準を設定する組織ではない。従って、「様式」は雛形やガイドであり、命令や標準ではないと考えている。また、マネージドケア薬局における標準的な手順を確立したことも意味しない。どのように「様式」を導入し、どうフォーミュラリー審査を行うかは、個々の保険医療機関の裁量である。例えば、ある保険医療機関が新規化合物についてのみ、一連の書式の提出を求める一方、別の保険医療機関は全ての新製品と、審査対象とする診療領域に属する既存薬の全てについて、同様な書類の提出を求めることもあるであろう。さらに、オーファン医薬品や、化学療法薬、抗エイズ薬などには申請資料に特例を設ける保険医療機関もあるだろう。理想的には、医薬品がフォーミュラリー審査の対象となるのは、完全な申請資料を提出できた時に限られるべきであるが、現実には保険医療機関からの「必要最低限以上の要請」を受け、製薬企業がその実現に最大限努力して行われる。証拠が足りない場合には、製薬企業は保険医療機関に対して、欠けている証拠についての詳細な説明と、時間の制約の中でどうこれを解決するかについてのプランを提示すべきである。もし、申請資料が、保険医療機関の求める「必要最低限以上の要請」を満たせないものである場合、保険医療機関は当該製品をフォーミュラリー審査の対象としないか、その製品をフォーミュラ

リーや PBM リストへ掲載し続けるのに見合う他の条件の提示を求めるべきである。

「様式」を採用する保険医療機関の数は増加し続けており、これに伴い、このプロセスが、効果的に標準手順を確立し、特定の医療行為がその保険医療機関の対象とする患者層への診療行為全体に対して持つ経済的な影響度を、公平に評価するのに最も優れた機会を提供するという確信を、AMCP と FMCP はますます強めている。治療成果を最も重視し、購入価格やリベートを選択の第 1 理由とすることなく、製品の評価と選択を支援するために不可欠なツールとして、AMCP と FMCP は今後も「様式」の導入を働きかけ続けるであろう。ある特殊な状況下では、費用削減が制限条件となりうるだろうが、実際には、それは問題とされ議論を呼ぶことになるだろう。近年のマネージドケアに対するバックラッシュは、その様な制限条件を受け入れないというアメリカ文化に由来しているといえる。1998 年、*Health Affairs* 誌において、Daniels と Sabin は、「その様な文化を変えるには、協調した教育が必要であり、教育には、マネージドケアの決定についての根拠が明らかにされる必要がある」と述べている¹。注意深く、慎重な意志決定過程を採用することにより、保険医療機関は、長期的には、間違いなく公平な決定を行い、我々にも合法的と判断できる手順を確立したことを示すことができるのである。AMCP と FMCP は「様式」が保険医療機関が合理的な意志決定を採用すること、そして患者、医師、そしてメンバーの信頼を得ることに専心することを記録するものであると信じている。「様式」は、治療行為を評価するツールであるが、その利用については、慎重な考慮が必要とされている。

「様式」の刊行以来、AMCP と FMCP は、手続きを改善し、より明確にするために、製薬企業と保険医療機関薬剤師からの意見を継続して求めてきた。第 2 版では、最初の試みとしてユーザーのコメントや疑問に

¹ Daniels N, Sabin JE. The ethics of accountability in managed care reform. *Health Affairs*. 1998; 17(5):50-64.

応えようとした。現在の、そして将来の「様式」のユーザーは、ガイドラインの内容部分はほとんど変更がされていないことに気づくだろう。この部分での改訂は主に表現を明確にし、よりユーザーに利用しやすく、理解しやすいものにするために行われた。我々は、過去2年間にわたって保険医療機関薬剤師や製薬企業から寄せられた懸念事項について、「コメントへの回答」部分で回答を試みている。我々は、我々の努力がより広範な「様式」の採用につながり、草の根の努力が採用者のネットワークの形成に寄与すると信じている。FMCPは、保険医療機関薬剤師と企業の従業員

に対する「様式」の適切な利用についての教育に努力を続ける一方、更なる「様式」の精緻化が必要であると認識している。この目的のために、FMCPのスタッフは、「様式」のユーザーからのコメントを求め、記録する。更にFMCPは、「様式」を厳格に評価したり、保険医療機関や製薬企業の意志決定プロセスへの影響度に関する研究を支援する。コメントや意見は、いつでも歓迎であり、FMCPプログラム責任者、Richard Fry まで送付されたい。(電話 (703)683-8416 内線 345、E-mail rfry@fmcenet.org)

目次

[--]は、フォーミュラリー申請ガイドラインを示す。(各保険医療機関は、[--]に自身の組織名称を挿入して、利用すること。)

信頼できる薬剤フォーミュラリーの基礎.....	1
ガイドラインの役割.....	1
ガイドラインの概要.....	1
内容.....	2
治療とデータソースに関する基準.....	2
潜在的な報告バイアスの公表.....	2
推奨フォーミュラリー申請手順.....	2
申請前相談の協議事項.....	3
定期的な診療クラス再審査と競合薬再審査時の資料更新の要請.....	3
[--]の役割と責任.....	3
フォーミュラリー申請資料.....	4

製薬企業向けの保険医療機関ガイドライン (フォーミュラリー申請資料の要請事項)
--

1	製品情報.....	5
1.1	製品の記述 [最大 20 ページ].....	5
1.2	治療における製品の位置づけ [1-3 ページ以内].....	5
2.	臨床、経済的添付資料.....	5
1.1	重要な臨床、経済学的試験の要約.....	5
1.2	公表および未公表の治験結果[1 試験最大 2 ページ ; [--]の様式に従って結果シートも完成させること].....	6
1.3	診療、疾病管理介入の戦略 [1 試験 3 ページを上限].....	7
1.4	治療結果、経済学的評価の資料[1 試験最大 2 ページ].....	7
2	モデル報告書 [最大 20 ページ].....	7
2.1	モデル概要.....	7
2.2	モデルにおけるパラメーター推計.....	9
2.3	予測、時間限界、および割引.....	9
2.4	分析.....	9
2.5	モデル結果の提示.....	10
2.6	例外.....	10
3	製品価値と総合的な費用 [最大 2 ページ].....	10
4	関連情報.....	10
4.1	申請資料中の引用文献.....	10
4.2	経済学的モデル.....	10
4.3	フォーミュラリー申請チェックリスト.....	1

概要

信頼できるフォーミュラリーの基礎

臨床、経済、人道的な根拠に基づく合理的な薬剤採用の決定は、信頼できる薬剤フォーミュラリー制度のもとで可能となる。医薬品、生物学的製剤、およびワクチンについては、臨床報告からの証拠に基づく、徹底的な（かつ定期的な）審査を行うべきである。証拠に基づき製品を効能、効果、安全性、そして費用対効果について評価することが、この審査の基礎となる。

こうした考え方は、NCQA 認定の「医薬品管理の手法」や、2000年8月に AMCP, ACHP, 米国医師会、ASHSP, 退役軍人省、PBM SHG, NBCH および米国薬局方によって開発、承認された「信頼できる医薬品フォーミュラリーの原則」によっても受け入れられている。（付録 B 参照）

[-]のフォーミュラリー審査の目的は、予算制約という現実を考慮した、根拠に基づく意志決定によって、質の高い薬剤供給を実現することである。可能であれば、プラセボのみでなく、既存の薬剤との比較でも検討されるべきである。

安全性、有効性が同等であることが証明された製品は、薬剤経済学的な証拠によって適正な製品価格や他の治療法の優位性が示されない限りは、（採用の）決定は主に正味の購入価格によって行われることになる。逆に言えば、臨床上の価値に疑問がある場合、経済学的な価値がこれを補うことはできない。

ガイドラインの役割

フォーミュラリー・ガイドラインは、医薬品、生物学的製剤、およびワクチンの情報にもとづく選択を下記の項目によって支援する：

- a) 製品と添付資料を標準化し、伝達する。
- b) 医療保険と被保険者である患者集団の両方に対する影響度を予測する。
- c) [-]の意志決定者が、選択肢についての根拠と、正当性を導く議論を明確にしかつ、検証できるようにする。

これら申請ガイドラインが目指すのは、フォーミュラリー作成が、しばしば用いられている製品価格/リベートへの依存から、臨床的な便益、すなわち相対的な効能・効果、安全性、そして全体の費用と健康への影響度などがより重要視されるよう支援することである。簡単に言えば、製造者は彼らの製品について、医療保険制度の参加者にとっての臨床的、経済的価値（すなわち、臨床的な便益(効能・効果)、安全性、治療の成果、そして総合的な経済性)を示す証拠を示すことが求められるのである。本ガイドラインは、安全性と有効性の臨床評価に次いで、費用対効果分析と経済モデルが、価値問題において重要なツールであると強調するものである。ただし、本ガイドラインが推奨する様式での情報の提供がフォーミュラリーへの採用を保証するものではない。

本ガイドラインは、[-]と製造者の協力を促進するために必要とされる条件について明確かつ共通の考え方を提示し、医薬品の評価を支援することを目的としている。製薬企業が必ずしも必要とされる情報の全てを認識していないことに鑑み（特に新医薬品の場合）、本書は医薬品の総合的な評価に最小限必要な情報について記述する。

一般に FDA と医薬品製造会社は「様式」が[...]臨床薬剤師によって行われるフォーミュラリーの評価に必要な情報について、詳細かつ必要最低限以上の要請であると考えている。この要請により、製薬企業は現在の FDA による規制の中で、その様なデータを提出することが可能になるのである。

ガイドラインの概要

医薬品、生物学的製剤、およびワクチンの完全なフォーミュラリー採用申請資料には以下の項目が含まれるべきである。

1. 疾病と製品に関する情報
2. 添付すべき臨床的および経済学的資料
3. 費用対効果、および予算影響度モデルに関する報告書

4. 製品の価値と総費用
5. 添付資料：別刷、引用文献一覧、チェックリスト、電子媒体および付録

内容

本ガイドラインは、申請資料を特定の内容、表現方法および分析手法を制限しようとするものではない。むしろ医薬品の審査に明らかに必要な条件を同定することを目的としている。しかしながら、根拠の作成に当たっては、製薬企業が採用する方針と手順および使用される技術は、[-]の要請を満たすべきである。製薬企業は[-]の代表者と協力してデータを収集し、(その保険医療機関について)必要な特別な条件や、モデリングする上での前提条件などについて合意しておくことが推奨される(参照 ●ページ 申請前相談の協議事項)。

治療とデータソースに関する基準

[-]は、治験はその大部分が、行政の要請を満たすように設計されるものであると認識している。しかし可能であれば、製薬企業は、例えば、治験を、[-]が関心を持つ対照薬と比較するなど、新薬の情報を必要としているより広範な医療、保険関係者について配慮することが望まれる。更に、経済的な評価は、[-]の診療環境の特徴を反映できるようすべきである。治験の結果のみにもとづく解析や、他の医療機関や PBM でのデータは、[-]に直接適用できることを製薬企業が示せないかぎり、十分とは認められない。企業は合理的に同等といえる医療機関で直接行われている診療のパターンを採用すべきだが、場合によっては、適切な標準的治療を構成する要件について意見のくい違いもあるであろう。この件は、申請前に解決しておくべき問題である。

潜在的な報告バイアスの公表

フォーミュラリーへの申請にあたり、潜在的なバイアスを最小限にとどめるために、製薬企業は一般に受け入れられている科学的な実施と臨床、経済的な評価

データの報告ルールに従うべきである。経済学的評価試験、予算影響度モデル、および申請資料の著者について、少なくとも下記内容は公表されるべきである。

1. 全ての研究者/著者の名前と、その所属についての詳細。
2. 研究者/著者の独立性に影響を及ぼしうる全ての金銭上、契約上の関係。

推奨フォーミュラリー申請手順

新製品の場合

下記手順は新医薬品の申請に推奨される。

- ステップ 1. 製薬企業は[-]の臨床薬剤部門スタッフに、自社パイプラインにある薬剤の状況について、逐次報告しておくべきである。効果的なコミュニケーションを確保するために、双方で特定の会議を設定すべきである。

上市の約6ヶ月前に、[-]の薬剤部門は、申請に必要な内容を含む正式な「必要最低限以上の要請」レターを送付する。レターは、適用内、適用外使用情報に関する FDA の規制に従い、医療関係者との連絡に携わる資格のある製薬企業従業員に届けられる。
- ステップ 2. 「必要最低限以上の要請」の提出後、[-]薬剤部スタッフと企業の代表は、予想される審査期間と、申請資料の提出期限を決めるため、および機密の商業データ、経済学モデルの前提条件、スプレッドシート形式のモデルの有無など、付属的な問題について議論するための、最初の事前相談の日程調整を行う。(参照 ●ページ 申請前相談の協議事項)
- ステップ 3. 少なくとも、製品審査の2ヶ月前に製薬企業は、申請資料を、書類で一部、電子媒体で一部、[-]に提出する。
- ステップ 4. その品目の担当となった[-]の医療スタッフが、申請を審査する。この初回審査に基づき、[-]の P&T 審査を行うスタッフがフォーミュラリー報告書を作成するまでに、製薬企業は照会事項について回答を求められたり、追加の情報の提供を求められる。
- ステップ 5. P&T 審査には任命された臨床薬剤

師が詳細な要約(モノグラフ)を作成する。モノグラフは、全てのデータの概要と、その製品をフォーミュラリーに載せるにあたっての賛否両方の基本的な議論、および附帯条件について記述する。

ステップ 6. [-]のスタッフはできるだけ速やかに、製薬企業側に P&T 委員会の答申を伝える。要請があれば、スタッフは企業に対し、製品が否決されたり、制限が加えられたことについての説明を与え、再審査請求についてのガイダンスを行う。

注：正式な再審査請求の手順は、各保険医療機関の裁量で決められる。医療機関や国防省、退役軍人省など公立の機関の場合、州法や連邦法によって、フォーミュラリー収載拒否に対する再審査手続きを整備することが義務づけられている場合もあるであろう。

申請前相談の協議事項

この会議は、予定品目の審査の少なくとも 4 から 6 ヶ月前に行い、製薬企業が[-]に提出するのに必要なデータを集めるのに十分な時間を持てるようにすべきである。この会議は、また、[-]によって必要と考えられている情報が欠けていた場合に、どうなるかということを議論する場でもある。この協議事項のリストが、[-]と製薬企業が、関連したトピックスを網羅できるように議論を導くだろう。

初回の相談において、企業側の代表者は下記の要件について、資料を用意し、議論のできる準備をすべきである。

- a) 期待される効能・効果の一覧
- b) フォーミュラリー申請に含まれる試験の概要
これには下記が含まれる：
 - ◆ 臨床試験（実験的なもの、非実験的なもの）
 - ◆ アウトカム研究
 - ◆ メタアナリシス
 - ◆ 遡及的研究
 - ◆ 経済、財政影響モデル
- c) 比較対照の使用とその関連性
- d) どのように費用と結果の影響度推定したかに

についての概要。これには、下記が含まれる。：

- ◆ データソースのリスト(試験、データベースなど)
 - ◆ 医療機関データの採用についての議論
 - ◆ 医薬品と比較薬の効能(efficacy)を効果(effectiveness)に変換する方策についての議論
 - ◆ [-]の診療環境のモデル化
 - ◆ (新薬への)患者置き換えの程度と総費用への影響度についての議論
 - ◆ 新薬へシフトする患者の特性を特定する仮説と、推奨手法
- e) 1~3 年以内に終了が期待される試験の要約
 - f) 申請チェックリスト

定期的な薬効領域再評価と競合製品再評価時の資料更新の要請

[-]は定期的に、各薬効領域で現在収載されている医薬品とされていない医薬品の全てについて再検討を行う。製薬企業は、自社製品の申請資料を直近の臨床データと経済学的モデル情報によって、更新することが求められる。この[-]による要請は、別送の「必要最低限以上の要請」レターで示される。

更に、新規の競合品の審査が行われる場合には、[-]は製薬企業に類似、もしくは同等の臨床上的特徴を持つ競合品の申請資料を更新することを求めることができる。

注：保険医療機関は、現在の P&T 委員会が定期的な薬効領域再評価を行っていない場合には、このセクションを削除しても構わない。

[-]の役割と責任

[-]の臨床薬剤師は、製薬企業の代表と会い、申請資料に必要な条件について確認し、データや分析手法について議論する機会を歓迎する。既述のとおり、[-]は製薬企業に製品申請と下記の評価について適宜情報を伝えなくてはならない。

- ◆ 申請資料提出期限
- ◆ 最初の審査もしくは再審査の日程
- ◆ 可能であれば、経済分析の開発を支援するための一般的な人口動態に関する情報
- ◆ 追加情報や、データ説明の必要性を伝えること
- ◆ P&T 委員会の答申

この要請に応えることで、機密情報が伝えられるかも知れないことを[---]は認識している。[---]は、商業上の機密情報を尊重し、合意に基づき必要な機密保持協約に署名する。

既に本文の至る所で述べているように、フォーミュラー申請過程の成否は、[---]と製薬企業との積極的な協力によって可能となるのである。

フォーミュラー申請資料

製薬企業は、フォーミュラー申請資料を「様式」に従って、自社製品の使用による効能・効果、安全性、財政影響度、その他治療成果に関する公表・未公表データを統合し完成すべきである。セクション1から4は、漏れなく、順番に提示されるべきである。本ガイドラインの標準化された報告様式を遵守することで、効果的な審査を可能にし、意志決定者による提供情報の有効活用が可能になり、本様式からの逸脱は、審査過程の遅延を招くだろう。申請資料は、使用した分析手法を明確にできるまで詳細であるべきだが、「様式」は、一方でかなりの柔軟性も残している。特定のセクションやデータが得られなかったり、不完全であっても、製薬企業がなぜ欠けているか説明を加え、可能であれば何時入手できるかについて記述すべきである。

製薬企業は、以下の追加的な情報についても提供すべきである。

- 1) 引用した全ての試験の文献と、セクション 2.4 の経済評価で用いた推計の基礎となった情報ソースについての包括的なリスト
- 2) 申請資料の著者名 (上記 開示セクションを参照)

- 3) 本資料のセクション 2.3 で用いた主要な経済評価の著者名 (上記 開示セクションを参照)
- 4) [---]への審査申請資料について、照会事項に回答し、追加情報の提供を行うことのできる担当者名

「必要最低限以上の要請」レターの例

製薬企業に対する保険医療機関ガイドライン
(フォーミュラー申請資料に明白に必要なもの)

日付
会計/医療科学リエゾン担当者の名前
会社の名称
住所

親愛なる.....

[組織名称] は、薬剤フォーミュラー審査を支援する臨床・経済的情報の提供にあたり、その手続きと明確に必要な要件について記している AMCP の「フォーミュラー申請の様式」を採用している。[組織名称] は「様式」が、医療、経済、その他科学的な情報(当組織において考慮すべき、未公表データや適応外使用のデータ)と、フォーミュラーへの収載や治療領域のレビューに必要な全ての医薬品についての薬剤経済学的モデルなどについての「必要最低限以上の要請」について記述していると考えている。詳細な[組織名称] の要請は、貴社にすでに送付されており、また[組織名称] のホームページから参照できる。(www.xxx.com)。

我々は、この「必要最低限以上の要請」が、フォーミュラー申請に添付されるべく望まれる情報を示していると考えている。製薬企業は、完全な申請資料を、その製品のフォーミュラー採用の審査が行われると考えられる期日に十分余裕をもって提出しなくてはならない。我々の目的は、全ての[組織名称] の P&T 委員会が、推奨治療法を選択する際に、経済価値を反映した証拠に基づく決定を行うことができるようにすることである。「様式」は、製薬企業がフォーミュラー申請資料を作成・提出する際の標準的な手順について解説している。申請資料は、フォーミュラー作成の過程での製品評価をより完全に、証拠に基づき、合理的なものにできるよう設計されている。

この要請に応えるために、機密情報が提供されることがあることを[---]は認識している。[---]は商業上の機密情報を尊重し、合意された条件のもとで、必要な秘密保持契約に署名することに同意する

本書状が、貴社の(製品名称)について、[組織名称]によって望まれている情報の「必要最低限以上の要請」であることを確認されたい。もし、更に詳しい情報が必要であれば、.....に連絡されたい。

1 製品情報

1.1 製品の記述

製薬企業は、自社の製品について詳細な情報を提供しなければならない。その新製品を、[-]のフォーミュラーへの採用に関わらず、当該症状で一般に使用されている他の薬剤と比較すべきである。その製品情報の中身は、伝統的に製品モノグラフやフォーミュラーキットに含まれていたもので、以下の通りである：

- a) その製品の一般名、商品名、そして薬効分類
- b) 全ての規格と包装単位
- c) 全ての剤型の医薬品コード(NDC: National Drug Code)
- d) 添付文書のコピー
- e) 単位あたりのAWPとWAC² ([-]との契約価格も可能であれば載せるべきである)
- f) AHFS³もしくは他の薬剤分類
- g) FDA承認適応症と、他の実験的な適用：FDA承認の適応症と、承認(見込)日についても載せなくてはならない。
開発が中止状態にある適用外使用や他の未承認使用についても可能であれば含めるべきである。
- h) 薬理学
- i) 薬物動態/薬剤動力学
- j) 禁忌
- k) 警告/注意
- l) 副作用
- m) 避けるべき相互作用
 - ◆ 薬剤/薬剤
 - ◆ 薬剤/食品
 - ◆ 薬剤/疾病
- n) 用法・用量、投与経路
- o) アクセス、つまり販売、供給の制限と予想される欠品

² Average Wholesale Price (AWP); Wholesale Acquisition Cost (WAC);

³ American Hospital Formulary Service (AHFS)

- p) 併用薬/併用療法、用法・用量も含む
- q) 当該治療領域の他の薬剤との薬理的、薬物動態のプロファイルの比較。新製品と代替性のある、競合品もしくは競合サービス (医薬品以外も含む)についての議論。本情報は、表形式で提出する。

1.2 治療における製品の位置づけ

疾病に関する記述は、疾病と治療を受ける患者の症状の特徴、についても触れ、各トピックスについて、文献情報の短い要約も提示されるべきである。試験からの情報を示す場合には、表形式が望ましい。

次に、これらの知見を[-]の対象とする患者層への適用を試みるべきである。文献と一般的な治療パターンや患者層とのずれについては、議論されるべきである。一種類以上の疾病をについて対象としている場合には、それぞれの症状ごとに記述は完結されなくてはならない。

疾病に関する特に必要とされる記述的信息：[2-3ページを上限とする]

- a) 疫学および関連するリスク要因
- b) 病理生理学
- c) 臨床所見
- d) 治療方針-基本的な選択肢/治療パターン
- e) 他の治療法に関する記述 (薬物、非薬物療法とも)
- f) 提案されている治療法の位置づけと期待される使用
- g) 期待される治療成果
- h) その他の重要な前提と、その妥当性

[-]と製薬企業は、比較の対象となる代替治療法の選択について事前相談であらかじめ決定しておくべきである。

2 臨床、経済的添付資料

2.1 重要な臨床、経済学的試験の要約

臨床上の安全性、有効性、経済的、臨床成果についての評価を行うために行われた、重要な臨床、経済学的

試験は、公表の有無にかかわらず、提出しなくてはならない。本セクションで報告される試験は、明確かつ簡潔に要約されるべきである；複数試験からのデータの提示は、表形式とすることが強く推奨される。下記の要件は、該当する限り全て含まれるべきである：

- a) 臨床試験の名前と場所、日付；
- b) 試験デザイン、ランダム化、盲検化の手法；
 - ◆ 研究テーマ；
 - ◆ 研究の視点；
- c) ウォッシュアウト期間、選択基準、除外基準；
- d) 被験者の特徴（年齢構成、被験者人数、重症度、合併症の有病率）；
 - ◆ 治療患者数（実際もしくは予想）
- e) 患者追跡方法（すなわち、もし intention to treat デザインが適用された場合には、脱落した患者の追跡の有無とその期間）；
 - ◆ 治療期間
- f) 治療と投薬計画；
 - ◆ 治療のフレームワーク
 - ◆ 使用資源の分類
 - ◆ 単位あたりの費用；
- g) 臨床的アウトカム指標；
 - ◆ 計測したアウトカム指標；
- h) その他のアウトカム指標（QOL など）；
 - ◆ 重要な知見
- i) 結果の統計学的意義と検出力；
- j) アウトカム尺度の妥当性検証（使用した場合）；
- k) 治療への遵守行動；
- l) 治療患者層からの一般化；
 - ◆ [--]の対象患者との関連づけ
- m) 引用・参考文献；

2.2 公表および未公表の治験結果

[1 試験最大 2 ページ；[--]の様式に従って結果シートも完成させること]

下記に示したカテゴリー(項目 a から d) ごとに、試験の項目 a から m (上記 2.1 セクションを参照)について、要約を提出しなくてはならない。製薬企業は、デー

タを要約する結果表も完成させるべきである。重要な対照薬の治験結果の要約は、望ましいが、必須ではない。重要な試験結果について議論し、[--]の患者層での意味合いについてもコメントすべきである。体系的な総説やメタアナリシスについても触れることができる。付録には、議論したり、引用した試験ごとに、論文の別刷や未公表の文書を載せなくてはならない。

- a) 重要な安全性、有効性試験 [通常 1 試験、1 ページと 1 結果表を上限とする。]
- b) 計画中の有用性試験（例えば大規模試験など） [通常 1 試験、1 ページと 1 結果表を上限とする。]
- c) 健康指標や QOL のような非経済学的評価項目を測定する、計画中の追加試験。もし、これらの試験で使用される測定機器が、過去の試験で検証されている場合には、それらの試験についても引用すること。[1 試験、1 ページを上限とする。]
- d) 前向き研究 [1 試験、1 ページと 1 結果表を上限とする。]
- e) 総説とメタアナリシス。特に解析を行った試験の採用基準と除外基準と主なアウトカム指標について。
更に、当該製品についての全ての既知の試験情報を表形式で要約し、上記セクション(項目 a から d)で触れた試験について明記する。
- f) 全ての公表・未公表の臨床試験の結果表（上記参照）。付録 C「様式：P&T 報告書」にあるような標準的な表形式は、下記のデータを載せるべきである。

- ◆ 引用、既公表の場合
- ◆ 試験デザイン
- ◆ 症例数
- ◆ 選択基準/除外基準
- ◆ 評価項目
- ◆ 統計学的有意性
- ◆ 日付
- ◆ 結果
- ◆ 治療法