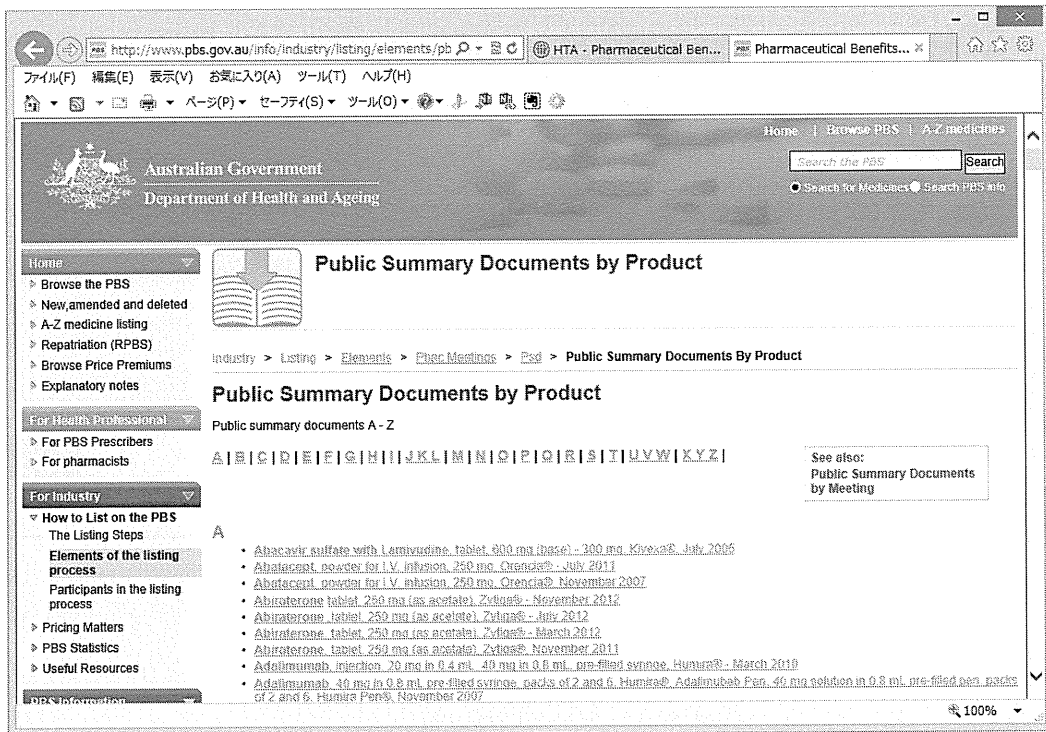


図表 84 医薬品等の Public Summary Document 一覧 (アルファベット順)



この Public Summary Document の情報は、Product、Sponsor、Date of PBAC Consideration の他、以下のような項目からなる。(図表 85)

- |  |   |
|--|---|
| ア. Purpose of Application                  | ケ. Clinical Claim                                 |
| イ. Background                              | コ. Economic Analysis                              |
| ウ. Registration Status                     | サ. Estimated PBS Usage and Financial Implications |
| エ. Listing Requested and PBAC's View       | シ. Recommendation and Reasons                     |
| オ. Clinical Place for the Proposed Therapy | ス. Context for Decision                           |
| カ. Comparator                              | セ. Sponsor's Comment                              |
| キ. Clinical Trials                         |   |
| ク. Results of Trials                       |   |

## 図表 85 個々の Public Summary Document の例 (Telaprevir)

### Telaprevir, tablet, 375 mg, Incivo®

[PDF printable version of this page \(PDF 91 KB\)](#)

#### Public Summary Document

Product: Telaprevir, tablet, 375 mg, Incivo®  
Sponsor: Janssen-Cilag Pty Ltd  
Date of PBAC Consideration: March 2012

#### 1. Purpose of Application

The submission sought Section 100 (Highly Specialised Drugs Program) Private Hospital Authority Required and Public Hospital Authority Required (STREAMLINED) listings for the treatment, in combination with peginterferon-alfa and ribavirin, of chronic genotype 1 hepatitis C in a patient 18 years or older who has compensated liver disease and meets certain criteria.

Highly Specialised Drugs are medicines for the treatment of chronic conditions, which, because of their clinical use or other special features, are restricted to supply to public and private hospitals having access to appropriate specialist facilities.

#### 2. Background

This was the second submission for telaprevir considered by the PBAC.

At its November 2011 meeting, the PBAC rejected an application seeking listing of telaprevir for treatment in combination with peginterferon-alfa and ribavirin of patients aged 18 years or older with chronic hepatitis C who have failed to respond to prior interferon based therapies (treatment experienced patients) on the basis of uncertainty about the impact of the final product information resulting from the evaluation by the Therapeutics Goods Administration (TGA) on all aspects of the submission with resultant uncertain cost effectiveness and highly uncertain utilisation.

The application to the November 2011 PBAC meeting was made under TGA/PBAC parallel process provisions. No TGA documentation was available at the time of PBAC consideration in November 2011.

A copy of the Public Summary Document from the November 2011 meeting is available at <http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/pbac-psd-telaprevir-nov11>

#### 3. Registration Status

Telaprevir was TGA registered on 6 March 2012 for the following indication:

Telaprevir, in combination with peginterferon alfa and ribavirin, is indicated for the treatment of genotype 1 chronic hepatitis C in adult patients with compensated liver disease (including cirrhosis):

- who are treatment naïve;
- who have previously been treated with interferon alfa (pegylated or non pegylated) alone or in combination with ribavirin, including relapsers, partial

また、PBAC outcome として、その結果のみをまとめた一覧も提供しているが、これは前述の PBAC Meeting の結果として、複数の薬剤が Web 上の一覧表 (図表 86) および PDF ファイルにまとめられており、申請に対する承認の結果から Positive Recommendation、1st Time Decisions Not to Recommend、Subsequent Decisions Not to Recommend、Deferrals、Items Awaiting a TGA outcome のカテゴリー別になっており、その時点での新規薬剤の位置づけが提示されている。

図表 86 PBAC outcome の提示例

industry > Listing > Elements > Price listings > Price Outcomes > 2012.07 > 2012 08 24 Positive Recommendations

July 2012 PBAC Outcomes - Positive Recommendations

PDF Printable Version of this Page

July 2012 PBAC Outcomes - Positive Recommendations

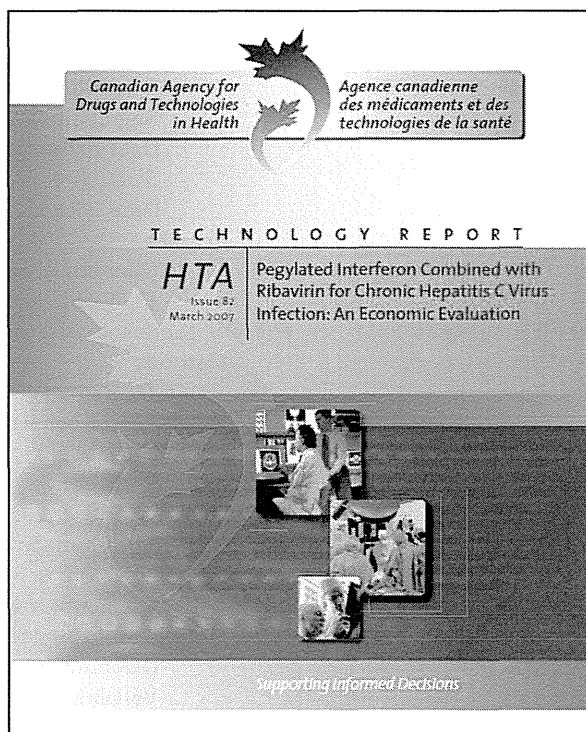
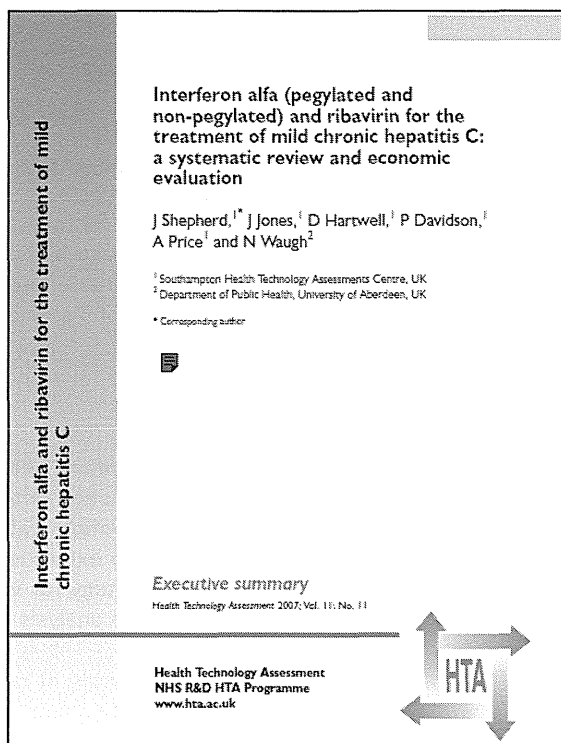
Drug and Form	Drug use and type	Listing requested by sponsor	PBAC Recommendation
Abiraterone, tablet, 250 mg (as acetate), Zytiga®  Janssen-Cilag Pty Ltd  Minor Submission	Metastatic prostate cancer	Re-submission to request a review of the March 2012 PBAC recommendation for an Authority Required listing for the initial and continuing treatment, in combination with prednisone or prednisolone, of patients with metastatic advanced prostate cancer (castration resistant prostate cancer) in whom disease progression has occurred following treatment with docetaxel.	The PBAC recommended listing abiraterone tablets as an Authority Required listing for the treatment, in combination with prednisone or prednisolone, of castration resistant metastatic carcinoma of the prostate in a patient who has failed treatment with docetaxel on a cost-minimisation basis with cabazitaxel and cost-effectiveness basis when compared with best supportive care.
Aprenantant capsule 165 mg	Anti-emetic	Authority Required	The PBAC recommended listing aprenantant capsules as an

### (3) HTA レポートの内容比較

NICE (英国) および CADTH (カナダ) では、それぞれ、HTA レポートを発行している。(図表 87)

双方とも基本的に、臨床的な背景とその課題に対応した新しい技術内容、その臨床的効果のシステマティックレビューの方法と結果、その臨床効果をもとにした費用対効果分析の方法と結果、考察、結果から構成されている。その内容の比較を表 2 にまとめた。これらの詳細な情報は、一般的な CEA 論文以上に解析の再現や検証の可能性を高めるものであり、非常に有用な情報源と考えられた。

図表 87 NHS (上) および CADTH(下)の HTA レポート (C型慢性肝炎例)



図表 88 NICE および CADTH の代表的な HTA レポート内容の比較 (その1)

NICE: HTA	CADTH
Executive summary	Executive summary
Background	Background
Description of underlying health problem	Epidemiology
Current service provision	Pathogenesis and clinical manifestations
	Diagnosis
	Risk factors
	Disease burden .
	Economic burden
Description of new intervention	Overview of Technologies
Aim of the review	Issue
	Objectives
Methods	Clinical Review
Search strategy	Methods .
Inclusion and exclusion criteria	Literature search
Data extraction strategy	Selection criteria
Quality assessment strategy	Selection method
Methods of analysis/synthesis	Data extraction strategy
	Strategy for validity assessment
	Data analysis methods
Clinical effectiveness	Results
Results	Quantity of research available
	Study characteristics
	Data analyses and synthesis
Economic analysis	ECONOMIC REVIEW
Introduction	Methods
Systematic review of the literature	Literature search
Review of manufacturer's submission to NICE	Selection criteria
	Selection method
	Data extraction strategy
	Strategy for validity assessment
	Data analysis methods
	Results
	Quantity of research available
	Study characteristics .
ERG(Evidence review group) cost-effectiveness	Primary economic analysis
Cost-effectiveness model	Methods
Statement of the decision problem and Strategies/comparators	Type of economic evaluation
Model type and rationale for the model	Target population
Baseline cohort of target population	Comparators
Data sources□	Perspective
Effectiveness data	Effectiveness
Health state values/utilities	Time horizon
Discounting of future benefit	Modelling
Cost data	Valuing outcomes
Intervention costs	Resource use and costs
Health state costs	Discount rate
Discounting of future costs	Variability and uncertainty
Presentation of results	
Assessment of uncertainty in the cost-effectiveness model – summary of	
Cost-effectiveness results	Results
Base case results	Analysis and results
Sensitivity analysis	Results of variability analysis
Univariate sensitivity analysis	
Probabilistic sensitivity analysis	

図表 89 NICE および CADTH の代表的な HTA レポート内容の比較 (その 1 に続く)

NICE: HTA	CADTH
Implications for other parties	
Factors relevant to the NHS	Health Service Impact
Identifying disease	Population Impact
Referral and management	Budget Impact
Budget and resource impact	Planning, Implementation, Utilization, and Legal
Implementation	
Clinical guidelines etc.	
Discussion	Discussion
Clinical effectiveness	Summary of Results
Cost-effectiveness	Clinical review
Assumptions, limitations and uncertainties	Clinical practice guidelines
Research needs	Economic review
	Economic model
	Health services impact
	Strengths and Weaknesses of this Assessment
	Clinical review
	Primary economic analyses
	Generalizability of Findings
	Knowledge Gaps
Conclusions	Conclusions
References	References
Appendix	

## 4. 医療技術評価データベースシステムの構築時の考慮すべき点の整理

現在、日本においては国内で実施された HTA・CEA などの医療技術評価情報を登録し活用可能としているデータベースシステムは存在しないと考えられる。そこで、海外での先行事例の調査に基づいて、今後、日本版の医療技術評価データベースシステムを構築する場合の考慮点を整理した。

### (1) ユースケースと登録情報

今後の医療技術評価の学術研究や医療政策的な活用、さらには社会に向けた広報に活用するケースなど、いろいろな目的やニーズがあると考えられるが、それらのユースケースと登録情報を類型化すると以下のようなものになると考えられる。

- 社会的な説明責任を果たすべく国内で用いられる薬剤や医療機器などの有用性とその費用対効果などの一般的な情報を登録したもの
- 国内 HTA 情報の詳細で透明性の高い情報を含むデータベースの構築により、その後の同一疾患・病態における薬剤を含めた新規技術導入の有用性・費用対効果などの検討および評価を行う際に活用する、あるいは、評価者政策決定者 (Policy maker) が比較等で参考にできる情報を登録したもの
- 国外 HTA 機関や学術誌に掲載された CEA 論文や HTA レポートの所在とその内容について登録することで、国内で実施された HTA についての評価の際に比較、参考にできるようにしたもの
- CRD や CEA Registry のように国内外の CEA や HTA レポートの書誌情報や方法や結果などの抄録情報を収集し、国際的な発信を行うことで、国際的な貢献を行うようなもの

### (2) データベースへの登録情報と必要となる検討事項

前述のように構築するデータベースシステムの目的により登録する情報の範囲、および、その情報粒度の検討、使用する言語の検討、それらの作業や維持管理にともなう人的資源やコストの検討が必要である。

#### 1) 登録情報の範囲(地域):

その出所が国内、あるいは、国内外、さらには国外でも英語圏だけ、あるいは、韓国やタイなどのアジア圏の HTA 情報などより広範な情報を含めるかどうかの判断である。国外の情報を登録することの利点は日本における HTA の評価に際しての指針、あるいは、判断時の比較対照となる可能性がある点である。しかし、そのような国外の情報を活用する場合には、国内外での疫学的事項の違いなど背景因子の違いなどが確認できるような情報の掲載も必要になると考えられる。

## 2) 登録すべき情報内容(粒度):

登録する情報内容は、NHS や CADTH などの HTA レポートのように、背景や新規技術の適用情報、臨床効果エビデンスの収集とその結果、費用対効果についての方法とその結果など、詳細にその HTA チームが行った検討が再現できるような細かな粒度での情報登録から、CRD や CEA Registry などの方法や結果情報の構造化された抄録レベルの情報粒度での登録が考えられる。当然、前者のようなより詳細な情報まで登録するには、費用や時間を多く必要とする。

## 3) 登録情報の言語:

海外の HTA 情報は日本語化し、日本語による HTA や CEA 情報を英語化することがすることが理想的と考えられるが、いずれも多くの人材資源とコストが必要となる。さらに検索用語のインデックスも日本語、英語の両方を有する必要がある。

## 4) 登録情報の制限(著作権・公開)の可能性

CRD や CEA Registry の情報をもとに海外の HTA ・CEA 情報を日本語化して登録をはかる場合や学術論文の内容を登録、提示する場合には著作権などの扱いが問題となる可能性があり、そのような機関や出版会社からの許諾許可がもらえる可能性があるかどうかや、仮に、将来、国内での HTA 情報が新薬や新たな医療機器の申請書類に添付されるような状況が到来したとしても、どの情報まで公開できるかなどの取り決めが必要となり、それによって、登録可能な情報も影響される可能性が高い。

## 5) システムおよび情報登録の維持管理

データベースシステムの日常の維持管理、また、経年的な機器更新、さらには日常の情報登録作業など、維持管理は、登録情報の内容や粒度などによって、予め必要となる人的資源およびコストを想定しておかなければならない。

これらの内容について利用目的や登録情報のユースケース毎に分け、図表 91 に示す。

### (3) データベースシステムと登録情報の提供方法について

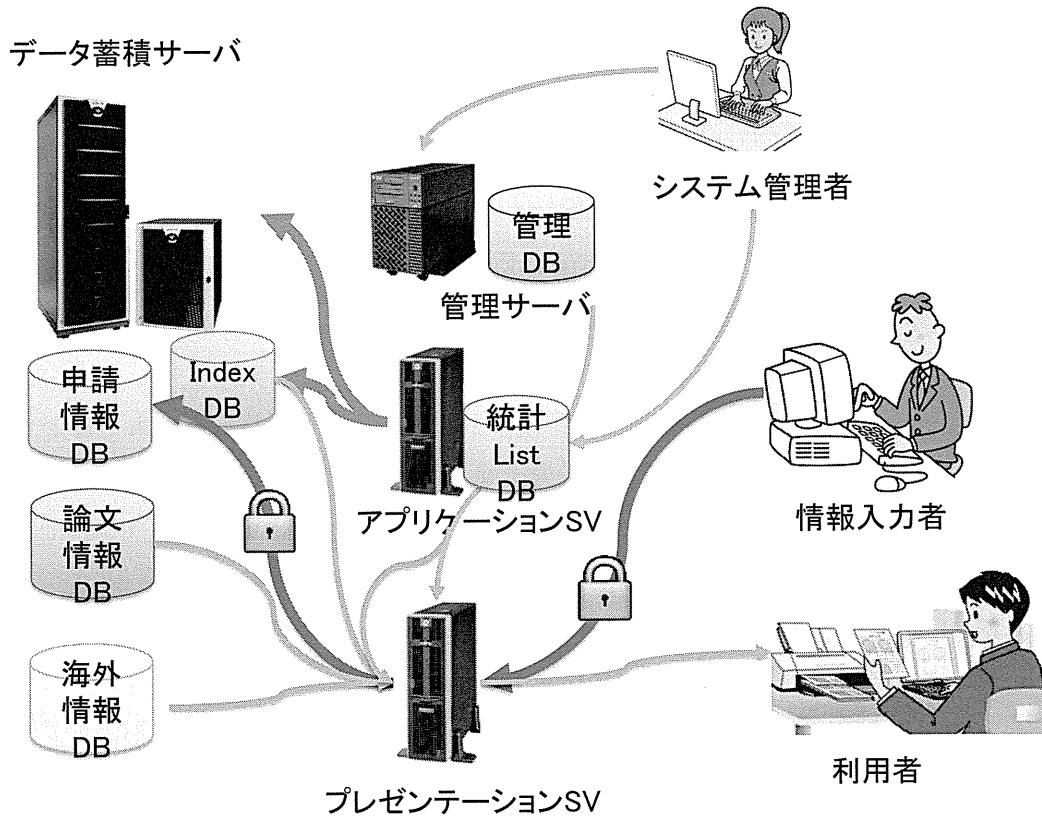
データベースシステムはその利用目的、ニーズにより登録情報も対象も異なるが、基本的にデータの登録用のデータベース、Web 等で公開し、その上で利用者のリクエストに従って求める情報を抽出し表示するシステム構成になると考えられる。(図表 90)

登録された HTA ・CEA 情報を広く公開することを考慮すると、それらの情報を提供している海外の種々の機関と同様に、HTA や CEA 情報の提供に特化したポータルサイト、あるいは他の同様のポータルサイトの一部の情報として、通常の PC やモバイル端末からもアクセスできる Web(HTML)ファイルあるいは、PDF ファイルでの提供が望ましいと考えられる。その点で、類似性をもつサイトが国内での医療用医薬品や医療機器についての情報を提供しているのが、独立法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA : <http://www.pmda.go.jp/index.html>) のサイトである。



同機構では新薬や医療機器の審査なども行われ、医薬品に関しては薬効や適用、副作用情報を「添付文書」、あるいは「インタビューフォーム」の様式により、前者はHTML、DTD、PDFファイルで、後者はPDFファイルで提供されている。このようなHTAにかかわる情報は、その提供組織はいかなるものであっても、継続的、かつ、タイムリーに提供されることが臨床のエビデンス源としても、また、医療行政の一つの情報源としても重要と考えられる。

図表 90 医療技術評価データベースシステムの例：情報入力や新規薬剤などの申請情報などへのアクセスの際には、厳格なアクセス制限が必要となる。



図表 91 日本版 HTA データベース構築に向けたパターン一覧

データベース	ユースケース1	ユースケース2	ユースケース3	ユースケース4 (ケース3と1または2の組合せ)
活用	国内社会に向けた一般的な情報(ガイダンス)の発信	詳細な情報蓄積により国内の医療者や今後のHTA/CEAを行う際に、あるいは政策決定者向けの参考情報として活用	国外HTA機関における情報や英文学術誌掲載の論文抄録の和訳(あるいはその所在情報)を蓄積し、政策決定などの参考として活用	国内HTA/CEA情報の日本語による蓄積と国内HTA/CEAの英訳による情報の発信し国際貢献も図る形で活用
収載内容 範囲	国内におけるHTA・CEA	国内におけるHTA・CEA	国外の情報(日本から英文誌に投稿された論文情報を含む)CRDあるいはCEA Registryレベルのデータ	国内外のHTA・CEA
粒度	<ul style="list-style-type: none"> <li>・背景</li> <li>・技術内容</li> <li>・比較技術</li> <li>・効果エビデンス</li> <li>・費用対効果結果</li> </ul>	パターン1の内容+ ・詳細方法 効果エビデンスのSR 分析視点・時間軸 モデル構造 自然歴データ 効用値 資源消費・費用推定 割り引き率 ・費用対効果結果 基本 感受性分析		CRDあるいはCEA Registryレベルのデータ + 国内データ(パターン1あるいは2の内容)
有用性				
国内	一般社会	一般社会・研究者・国内での新規技術申請者	医療者・政策決定者・研究者	医療者・政策決定者・(パターン2を含む場合は研究者・新規技術申請者)
国外	国内情報の英語化で一部有用	国内情報の英語化で有用性	なし	国内データの英語化で有用性(パターン2まで含む場合)
維持管理コスト	低	中	中(和訳)	高
蓄積情報の制限の可能性	低	申請データの開示制限の可能性	国外情報サイトや出版会社からの情報掲載の許諾の必要性	国外情報サイトや出版会社からの情報掲載の許諾の必要性+申請データの開示制限の可能性(ケース2との組合せの場合)

## 5. まとめ

我が国での医療技術評価のデータベース構築を検討するために、海外における代表的な同様のデータベースや HTA 機関、あるいは公的機関が提供する情報の調査を行った。CRD や CEA Registry などのように国内外の HTA レポートや CEA 論文の収集を行っているサイトでは、検索により原著の書誌情報（HTA レポートの URL を含む）や方法やその主たる結果を構造化抄録や一覧として表示するシステムをとっていた。一方、英語圏のイギリス、カナダ、オーストラリアの HTA 機関や公的機関が提供している様々な医療技術評価情報では、製薬会社などから申請された HTA あるいは CEA 結果に対する評価レポート（例：NICE の TA Guidance や ERG レポート、オーストラリアの Public Summary Document）では、方法等の詳細部分に不明点が含まれる結果の提示となっているも情報も多く収載されていたが、NICE や CADTH からは、別途、独自に依頼し作成した HTA レポートについても公開、検索可能としており、その詳細な内容は非常に有用な情報と考えられた。

我が国における医療技術評価のデータベースを構築する際には、海外事例を参考にどのような登録情報レベルと機能を有するシステムを構築するかを、その目的とニーズを明確にし、その有用性ととも情報利用の制限の可能性や構築時のコストだけでなくその後の維持管理にかかわる人的資源を含めたコストを十分に考慮した上で検討する必要がある。

## 資料

### 1. CRD EED (Economic Evaluation Database)に含まれる内容

- タイトル
- 著者
- CRD 要約
- 経済評価の種類
- 研究目的
- 介入内容
- 場所/設定
- 方法
  - ◇ 分析法
  - ◇ 効果についての情報
  - ◇ 経済的効果、効用値
  - ◇ 効果指標
  - ◇ 費用データ
  - ◇ 不確実性分析（感受性分析）
- 結果
- 著者の結論
- CRD コメント
  - ◇ 介入内容
  - ◇ 効果/ベネフィット
  - ◇ 費用
  - ◇ 分析方法と結果
  - ◇ 結論的なコメント
  - ◇ 財政支援（スポンサー）
- 書誌情報
  - ◇ PubMedID
  - ◇ 原著の URL
  - ◇ インデックス状況
  - ◇ MeSH
  - ◇ アクセッション番号
- データベース登録日
- レコード状況

## 2. GRD:HTA に含まれる情報項目

- タイトル:
- 著者:
- レコード状態:
- 引用:
- 著者の目的:.
- 著者の結論:判断に向けた示唆;
- プロジェクト URL:
- INAHTA 抄録とチェックリスト
- インデックス状況:
- MeSH:
- 出版言語:
- 国別コード:
- 対応著者 (Correspondence) の住所:
- アクセッション番号:
- データベース登録日:

### 3. CEA Registry に含まれる情報項目 (ArticleID で関連づけ)

- Article-Methods (文献・方法) :
  - ◇ 出版情報
  - ◇ 介入の種類
  - ◇ prevention stage
  - ◇ 疾患分類
  - ◇ 分析の行われた国
  - ◇ 財政支援 (スポンサー) (funding)
  - ◇ 分析時間軸
  - ◇ 分析の視点
  - ◇ 費用と効果 (QALY) の割り引き率
  - ◇ 費用対効果の閾値
  - ◇ 感受性分析の種類
  - ◇ 分析の全体な質の主観的評価
- Cost-Effectiveness Ratios: (費用対効果比)
  - ◇ 対象集団 (サブグループを含む)
  - ◇ 介入 (Intervention)
  - ◇ 代替比較
  - ◇ 費用対効果比
- Utility Weights: (効用値ウエイト)
  - ◇ 健康 (アウトカム) 状態
  - ◇ 効用値

厚生労働科学研究費補助金 政策科学総合研究事業

(政策科学推進研究事業)

医療経済評価を応用した医療給付制度のあり方に関する研究

平成 24 年度 総合研究報告書

平成 25 年 (2013) 年 3 月

