

- ・ ごく一部の評価結果は、以下で公開されている。

<http://www.pharmac.health.nz/tools-resources/research/tars>

- ・ このような評価結果の非公開性は、企業からは透明性が低いと批判を受けている。
- ・ 新聞報道（2013年6月21日付日経新聞等）では、TPP交渉において米国がこのような価格決定の際の非公開性に懸念をいっているとの報道もあり、交渉結果によっては、このような価格交渉のための非公開性が維持できなくなる可能性も否定はできない。

[D. The role of the evaluation in decision-making]

D-1. Application of evaluation to decision-making

・PHARMAC では、給付開始を希望する新規薬剤について待機薬剤リストを作成しており、公的給付リストに含める優先順位づけをしている。この優先順位づけをする際に、C-3 で述べた 9 つの基準のうちの 1 つとして、費用対効果の情報が利用されている。

D-2. Decision-making based on evaluation results

・待機薬剤リストからは年に 4 回、順位が上のものから、新規給付予算の範囲内で予算の範囲内で公的給付されるものが決められる。例えば、下表(仮想例)で予算が 700 万 NZ ドルの場合、優先順位が 4 番のものまで給付が拡大される。

優先 順位	薬剤名	適応	PTAC の 優先度	CUA 順位	QALYs/\$1m (possible)	支出額 (初年度)	累計予 算
1	Fantasticol	Lupus	High	1	40-80 (20-100)	\$80,000	\$0.1m
2	Colomab	Colorectal cancer	Medium	2	25-50 (15-50)	\$5,000,000	\$5.1m
3	Rheumatol	Rheumatic fever	High	6	5-10 (3-10)	\$1,000,000	\$6.1m
4	Typhoid vaccine	Typhoid prevention	High	5	5-12 (2-20)	\$530,000	\$6.6m
5	Vinedronate	Arthritis	High	4	7-10 (6-12)	\$1,200,000	\$7.8m
6	Metogrel	ACS	Medium	3	7-13 (4-16)	\$620,000	\$8.4m
7	Tagagliptin	Diabetes	Low	7	4-8 (0-10)	\$500,000	\$8.9m

・一度公的給付に含まれなかったとしても、「給付不可」とはならず、待機薬剤リストにそのまま残される。新たな臨床試験のデータが得られたり、交渉によって価格の引き下げが合意された場合などは、順位が再検討される。

・例えば、アルツハイマー治療薬のドネペジルは、後発品が登場した後に公的給付リストに含まれるようになった。

・2011 年度に給付された医薬品では、重み付き平均で 22 QALY/100 万 NZ ドル(ICER=450 万 NZ ドル/QALY)、申請のあった全 49 品目の医薬品では 13 QALY/100 万 NZ ドル(ICER=770 万 NZ ドル/QALY)であった。

・この優先順位付けが行われるのは新薬のみであり、すでにリストに含まれる既存薬については、リストから外されることはほとんどない。

・公的給付リストに含まれる既存薬については、1 剤ごとに予算管理がなされており、予算が超過しそうな際には、価格交渉やアクセス制限、給付取りやめ等の措置がとられる。GP は処方を行う際に、薬剤が給付されるかをオンラインでチェックしている。

・公的給付リストに含まれない医薬品については、例外的に個人ごとに使用を申請して承認が得られれば使用できる NPPA(Named Patient Pharmaceutical Assessment)と呼ばれる仕組みがある。年間 700~800 件程度の申請があり、約半数程度が使用を承認されている。

D-3. Positive/negative results of the evaluation

・ PHARMAC は「給付」「非給付」の決定は下さず、優先順位付けのみを行う。順位が低く公的給付リストに含まれなかった医薬品は、そのまま待機薬剤リストに残される。

D-4. Feedback (in particular, negative feedback) about your organization from citizens/patient groups

・ 製薬会社からは透明性の低さを指摘されているが、PHARMAC は C-4.1 に記述した理由で「詳細非公開」の立場をとっている。TPP 参加に関する議論でも、この状況が話題となっている。また、健康よりも予算を優先しているという批判もある。

・ 患者や医師はこのような状況に比較的適応しており、公的給付リストに含まれないことによる大きな反対などはない。

・ PHARMAC の意思決定の際には、パブリックコメントの機会が設けられている。

D-5. Example of an evaluation and decision-making

【スニチニブ】

・ スニチニブは Special authority form に記載されている一定の条件を満たす患者にのみ償還が認められている。処方の際には、条件を満たしていることを医師が報告して、承認を得る必要がある。

<http://www.pharmac.govt.nz/2013/10/01/SA1266.pdf>

・ 初回の給付申請は 2006 年 12 月に、転移性腎細胞癌およびイマチニブ治療後の GIST を適応としてなされた。この際には PTAC と PTAC sub-committee で議論したものの、公的給付リストに含めることを否定した勧告を PHARMAC に行ったため、給付はなされなかった。

・ その後転移性腎細胞癌については、2007-2009 年にわたり、新たな臨床試験のデータが PTAC と PTAC sub-committee に提供された。これをもとに 2009 年 11 月、PTAC は一定の条件を付した上で PHARMAC に給付を勧告した。PTAC による priority は low であった。

<http://pharmac.govt.nz/2010/01/29/2009-11%20PTAC%20minutes%20for%20web%20publishing.pdf>

・ この後に PHARMAC による経済評価が実施され、2009 年 12 月に待機薬剤リストでの順位付けが行われた。

・ 2010 年 8 月には、スニチニブとバレニクリンの給付リスト採用が、エタネルセプトの適応拡大とベンラファキシンの価格引き下げとあわせて提案された。また、売り上げに応じたスニチニブのリベートも含まれていた。

http://pharmac.govt.nz/2010/08/19/2010-08-19%20PHARMAC%20consultation%20on%20proposal%20for%20venlafaxine%2C%20etanercept%2C%20varenicline%20and%20sunitinib%20_full_.pdf

・ 2010 年 9 月にスニチニブの転移性腎細胞癌への給付が認められた。外部評価者からのフィードバックにより、適応条件は若干改められている。

<http://www.pharmac.govt.nz/patients/ApplicationTracker?ProposalId=78>

・ GIST に関しては、ファイザー社から 2011 年 8 月に給付リストに含めるための提案が出され、PTAC と癌の PTAC sub-committee で議論された。その後、経済評価が行われ、2012 年 3 月には待機薬剤リスト上で優先順位がつけられた。2012 年 8 月にファイザー社のその他 6 剤の薬剤とともに交渉がまとまり、2012 年 10 月に給付が認められた。

<http://www.pharmac.govt.nz/patients/ApplicationTracker?ProposalId=77>

・ スニチニブについては、まだ様々な制限がついているが、これについての提案を現時点では、PHARMAC は受けていない。もし、そのような提案がなされれば、給付範囲の拡大等が可能になるかもしれない。

【長時間作動型インスリン】

インスリン グラルギン:

<http://www.pharmac.govt.nz/patients/ApplicationTracker?ProposalId=162>

2006 年 6 月にリスクシェアリングスキームや注射針の無償提供という交渉のもとで、給付リス

トに含められた(1型糖尿病)。ただし、強化療法の治療歴があるなどの条件付きである。

インスリンデテミル：待機薬剤リストには含まれるようであるが、給付リストに掲載されていない。

HTA in NZ: An introduction to PHARMAC and it's use of health technology assessment

PHARMAC October 2013



New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

Today's Presentation

- Intro to PHARMAC
- The factors that make PHARMAC unique
- Consequences for analysis and funding
- Time for further questions

New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

PHARMAC's structure

A Crown Entity reporting to the Minister of Health

Responsible for managing the subsidy on pharmaceuticals for New Zealanders, using Government funds

Set up in 1993 to manage pharmaceutical expenditure that was growing fast

About 100 staff with a mix of medical, scientific, pharmacy and economics backgrounds

PHARMAC's statutory objective

“To secure for eligible people in need of pharmaceuticals the **best health outcomes** that are reasonably achievable from pharmaceutical treatment and from **within the amount of funding** provided”

NZ Public Health & Disability Act 2000

Funding overview

Vote Health: nearly \$15 billion each year

Community Pharmaceutical Budget: \$795 million

PHARMAC manages the funding of community medicines, vaccines and all cancer medicines (hospital or community) within this budget

Hospital medicines in July 2013

Medical devices from July 2015 - 2017

WHAT DO WE DO?

Manage the Pharmaceutical Schedule

- Determine:
 - What is and is not on the list (i.e. subsidised)
 - The subsidy for each item on the list (not the price)
 - Conditions of use (to gain subsidy)
 - This includes cancer treatments (many are administered in DHB hospitals)
- Manage hospital pharmaceuticals
- Encourage responsible use of pharmaceuticals
- Manage special access programmes

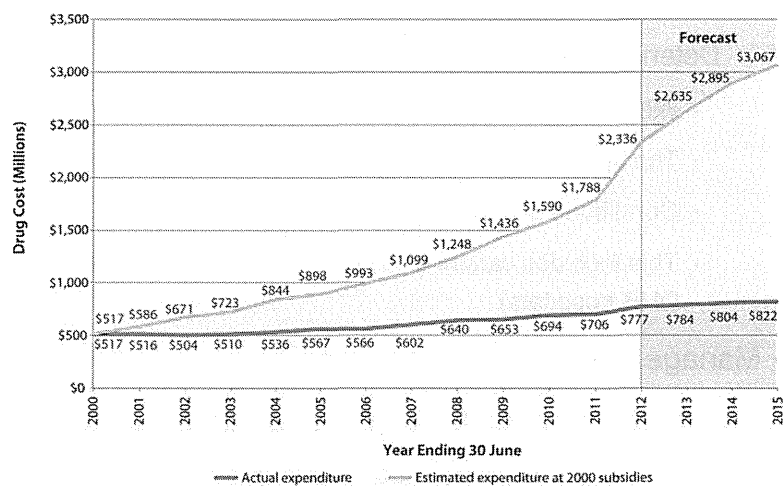
WHAT DON'T WE DO?

- Buy and/or sell drugs (suppliers, wholesalers, pharmacies)
- Write out cheques for drugs supplied to patients (Sector Services, MoH)
- Set the budget (Minister, Ministry and DHBs)
- Approve pharmaceuticals for use in NZ (MedSafe)

New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

PHARMAC's long-term impact



New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

Managing the budget

Budget set annually (Minister)



Forecasting

How much is committed (past decisions)? How much is available?



**Free up Funds
to invest in new treatments**



**Invest Funds
for additional health gain**

PHARMAC deals with vastly different options

- PHARMAC manages the budget for community pharmaceuticals, oncology pharmaceuticals, vaccines, special foods, and a few medical devices (e.g. insulin pumps)
- We are likely to take over managing the budget for hospital pharmaceuticals and all medical devices in the coming years
- PHARMAC has one budget from which to fund interventions:
 - From different therapeutic areas (e.g. cardiovascular vs. dermatology)
 - Of different types (e.g. preventative vaccines vs. tumour treatments)
 - Of different effect (e.g. life-saving medication vs. minor pain relief)
 - Of different cost (e.g. \$1m per patient per year vs. cents per day)

PHARMAC is both the assessor and negotiator

- PHARMAC does not just consider drug offers and accept or reject them
- PHARMAC is free to use any number of negotiating tools, including:
 - Confidential prices
 - Annual expenditure caps
 - Subsidy, delisting or sole supply offers
 - Reference pricing
 - Challenging patents
- When negotiation changes the terms of a deal, we return to our cost-utility analyses and reassess the proposal

Consequences

Ranking of Proposals

A fixed budget

+

More options for investment than can possibly be afforded

=

A need to identify the best proposals and fund as many as possible

Building a Ranked List

To determine which are the “best” proposals and which we can fund, we need

- A way to compare any two proposals (a definition of “best”)
- Projected budget impact for all new proposals
- A forecast of how much money there will be after paying for existing products and accounting for savings we will make

PHARMAC’s Nine Decision Criteria

1. Health needs of eligible people
2. Health needs of Maori and Pacific people
3. Availability and sustainability of existing treatment
4. Clinical benefits and risks
- 5. Cost-effectiveness**
6. Overall budgetary impact
7. Direct cost to health service users
8. Government priorities for health funding/Government objectives
9. Other criteria (with appropriate consultation)

Consistency in assessment

All cost-utility analyses must be comparable

We report CUA results in QALYs gained per \$1 million invested

QALYs rather than disease-specific outcomes

QALYs/\$1m rather than cost per QALY to better portray health gains and losses from investment decisions

A consistent standard of practice and assumptions is necessary in CUAs

Prescription For Pharmacoeconomic Analysis (PFPA)

Effort can be sensibly varied

Often, a basic cost-utility analysis will show a product to be obviously within the funding line, or obviously out of it

These CUAs can remain basic

This frees up our time to ensure that borderline or important cases are thoroughly considered

Budget impact and forecasting

Budget impact and forecasting expenditure on existing products becomes as important as cost-utility analysis

Forecasting allows us to determine how much we have to invest in new products

If our forecasts for a year were even 1% out, we would be wrong by \$7m, a major portion of our room for investment

Budget impact is needed to see how many new investments we can afford

While cost-utility analysis is done from the perspective of the whole health sector, budget impact looks only at PHARMAC's budget

Ranking of Proposals

An example of our Options For Investment list (with fictional proposals), with a budget for investment of \$7 million this year

Clearly shows the opportunity cost of every decision

Priority	Proposal	Indication	PTAC priority	CUA rank	QALYs per \$1m, likely (possible)	Proposal expenditure (first year)	Cumulative expenditure
1	Fantasticol	Lupus	High	1	40-80 (20-100)	\$80,000	\$0.1m
2	Colomab	Colorectal cancer	Medium	2	25-50 (15-50)	\$5,000,000	\$5.1m
3	Rheumatol	Rheumatic fever	High	6	5-10 (3-10)	\$1,000,000	\$6.1m
4	Typhoid vaccine	Typhoid prevention	High	5	5-12 (2-20)	\$530,000	\$6.6m
5	Vinedronate	Arthritis	High	4	7-10 (6-12)	\$1,200,000	\$7.8m
6	Metogrel	ACS	Medium	3	7-13 (4-16)	\$620,000	\$8.4m
7	Tagagliptin	Diabetes	Low	7	4-8 (0-10)	\$500,000	\$8.9m

PHARMAC has no cost-effectiveness threshold

The amount of money available for new investments varies from year to year.

Similarly, the quality of proposals presented to PHARMAC varies from year to year.

Between these two factors, the cost-effectiveness of the worst accepted option will vary from year to year.

A threshold where we must accept or must reject proposals of certain criteria would likely lead to over- or under-spend.

Thresholds would also conflict with our decision to use nine factors to assess a proposal.

Our standard for investment changes – ways to adjust for this

Waiting: We seldom reject proposals. If something doesn't make the cut initially, it will remain on the list until it does get funded (rises up).

Recommending a budget: we can look at upcoming drugs and recommend our budget is large enough to cover it. We can also observe that we have few good options on our books and suggest a budget freeze or decrease

Discretionary Pharmaceutical Fund: lets us carry up to 2% of the annual budget between years

Expanding our scope: we can take on products currently handled by other areas of the Ministry of Health, along with the burden of its cost

Failing: PHARMAC has never gone over its budget nor significantly underspent, but we do accept that it could happen

Confidential information: the pros and cons

Because PHARMAC is always negotiating with companies, our analyses contain confidential information

A simple example is a secret low price offered to NZ but not to larger markets

We couldn't publish our CUAs as-is, often even after approving funding. The prioritisation list is also not published

Even publishing our cost-effectiveness results might give too good a clue to confidential information

This makes it harder to justify our decisions to the public, and also prevents us from making our full CUAs available to other countries

It does give us an advantage in negotiations, as we know what other options a company is competing against but they do not

Further questions

Additional Slides

Cost-Utility analysis



New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

What is Cost-Utility Analysis?

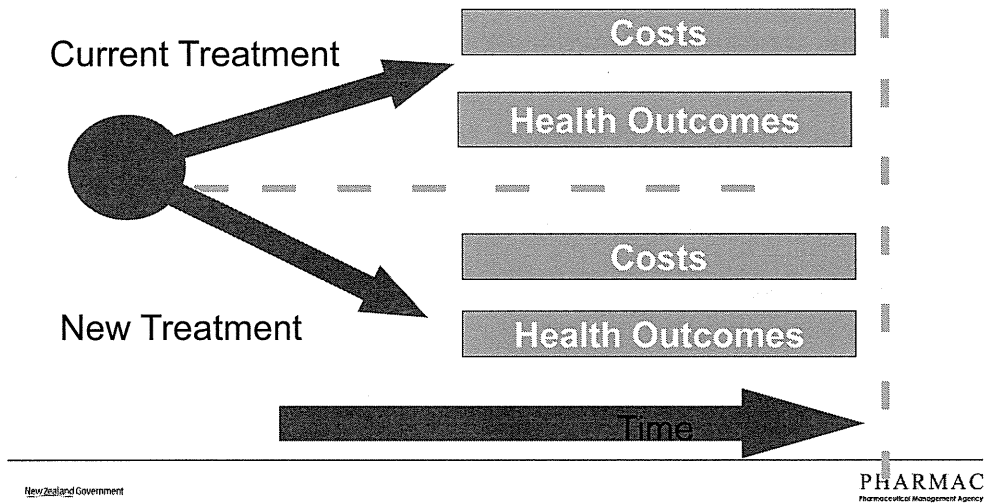
- Provides information on relative value for money of a pharmaceutical
- Explicit consideration of incremental costs and benefits
- Enables comparison between pharmaceuticals that treat different conditions
- Takes account of both reductions in mortality and morbidity
 - In other words, quality and quantity of life
- Includes savings to the health sector

New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

Economic Analysis

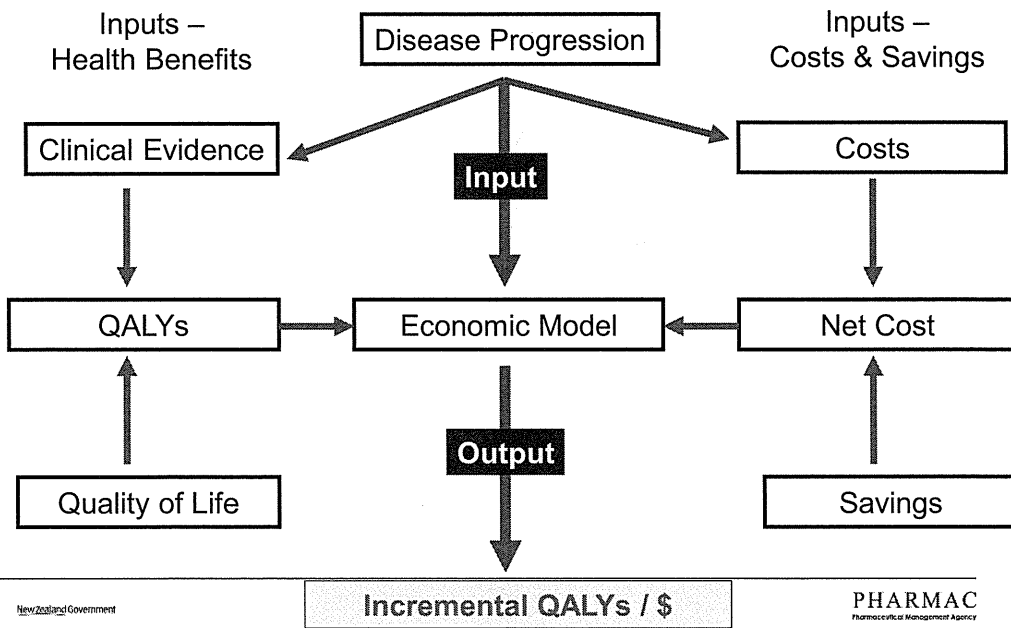
- Compares the new option to currently available treatments
- Looks for incremental health gains and incremental costs



New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

Cost-Utility Analysis



New Zealand Government

PHARMAC
Pharmaceutical Management Agency

CUA example

New pharmaceutical to treat cancer

Literature search shows one available RCT

Critical appraisal of the trial shows it is high quality (grade 1++ evidence)

The trial reports good benefits associated with the new treatment:

Delays disease progression by 6 months

Extends patient survival by 6 months ('life year gain')

No significant adverse events

CUA example

	New treatment	Current treatment
Progression-free survival (PFS)	12 months	6 months
Progressed disease (PD)	24 months	24 months
Overall survival	36 months	30 months

