

- ・ 生存曲線を用いて効果等を推計する場合は、生存曲線の形状や（パラメトリックな曲線を用いる場合は）ノンパラメトリックな生存曲線へのあてはまり等を図示する。また、パラメトリックな曲線を用いる場合は、当該曲線を用いる根拠についても記載する。
- ・ 生存曲線から効果等を推計している場合は、パラメトリック法を用いている場合でも、ノンパラメトリック法で推定された経時的な生存率（あるいはイベント発生率等）等を添付の表の形式で示す。
- ・ パラメトリックな曲線を用いて生存曲線を推定している場合は、その形状を特定することのできる式もあわせて提示する。

4.1.2 使用する臨床研究

- ・ 比較対照技術との追加的有効性等を分析に反映させる際に、3.2 節あるいは 3.4 節で同定した臨床研究の中から、単一のものを用いる場合、当該試験名とその試験を選んだ理由を記載する。
- ・ 選択した臨床研究については、下記の情報を記載する。
 - ・ CONSORT 声明の推奨するフローチャート (<http://www.consort-statement.org/>)
 - ・ 被験者のベースライン時の人口統計学的性質、カプラン・マイヤー曲線あるいは臨床検査値等の経時的変化、有害事象の詳細など試験のキーとなる情報
- ・ 複数の臨床研究を統合して使用する場合は、メタアナリシスの詳細について 3.5 節に記載する。
- ・ 当該医薬品・医療機器と選定した比較対照を直接比較した臨床試験が存在しない場合は、そのことを記載し、分析を行うためにどのように取り扱うかを検討する。間接比較やネットワークメタアナリシスなどを行う場合は、3.6 節に記載する。

4.1.3 分析で使用したパラメータ

- ・ 分析で使用したパラメータ（マルコフモデルにおける推移確率等を含む）を別添の表にまとめて記載する。
- ・ サブグループ解析やシナリオ分析で使用するパラメータについてもその旨を記載した上で、値を示す。

4.1.4 モデルで使用した仮定

- ・ モデルや分析において使用した仮定を全て記載する。

4.2 パラメータ等の設定根拠

4.1.3 節で設定したパラメータ等の算出根拠について、詳細を記載する。

4.2.1 有効性・安全性等のパラメータの詳細

- ・ 臨床研究等からパラメータを算出した場合、その計算方法等について記載する。

4.2.2 QOL 値の詳細 [該当する場合のみ]

- ・ 4.1.3 節で QOL 値のパラメータを含んでいる場合、使用する QOL 値について、測定の対象とした集団、使用した QOL 尺度等を記載する。
- ・ 提出者が行った調査等に基づいて QOL 値を設定する場合は、その調査の詳細を記載する。
- ・ 家族や介護者等による代理の回答を用いた場合は、その旨を記載する。
- ・ PRO(Patient Reported Outcome)尺度から換算して QOL 値を設定 (マッピング) する場合は、換算を行った方法やその妥当性について記載する。

4.2.3 費用のパラメータの詳細

- ・ 原則として、費用については、「単価」と「数量」を別添の表に埋めて示す。「単価」は、現時点における診療報酬点数表、薬価基準、特定保険医療材料価格基準等を用いること。
- ・ ただし、新規収載品で薬価あるいは特定保険医療材料価格が定まっていない時点における分析では、希望価格を使用する。
- ・ レセプトデータを用いて費用を推計した場合は、その推計方法の詳細、例えば
 - ・ 断面 (横断) データか縦断データか
 - ・ 収集期間/診療年月
 - ・ 対象とした医療機関/保険者
 - ・ 健康状態の定義
 - ・ 現時点への単価の調整方法
 - ・ 費用を推計する際の統計解析手法等について示す。
- ・ 既存の疾病費用研究を用いた場合は、その研究の詳細について示す。
- ・ 生産性損失や公的介護費等も上記と同様にその算定根拠の詳細を記載する。

5. 分析結果

5.1 増分費用、増分効果、増分費用効果比

- ・ 分析の結果を別添のような表にまとめて詳細に記載する。
- ・ 費用については、別添の表のような内訳も示す。

5.2 サブグループ解析 [該当する場合のみ]

- ・ 対象とする疾患の一部の患者集団を対象としたサブグループ解析を行った場合は、サブグループの性質とその結果を記載する。

5.3 シナリオ分析 [該当する場合のみ]

- ・ 異なる使用方法や集団、比較対照技術について解析を行った場合は、シナリオ分析の結果を記載する。

5.4 感度分析（確率感度分析含む）

- ・ 不確実性を有するパラメータや割引率については感度分析を行い、その結果を記載する（一次元感度分析の場合は別添を参照）。
- ・ 当該医療技術の費用についても一次元感度分析を実施する。
- ・ 確率感度分析を行う場合は、費用効果平面上の散布図と費用効果受容曲線を記載する。

5.5 分析の妥当性の検討

- ・ 分析結果の妥当性について検討し記載する。特に、推計された効果について既存の臨床研究や統計、長期的な疫学調査との整合性等について記載する。

6. 再分析用のデータ

- ・ 再分析用データについては、結果が再現等可能になるよう電子ファイルの形式で提出する。その際、入力するパラメータ等は操作可能な状態にしておく。
- ・ 必要に応じて、パラメータ名とそれが指し示すものについて一覧表を添付する。
- ・ 使用したソフトウェアとバージョン、ファイル名、提出メディア形式（USB メモリ、CD-R 等）について別添の表形式で記載する。

7. 実施体制

- ・ 費用対効果評価を実施するにあたって研究機関等に所属する医療経済学等の専門家や臨床家等に分析の助言や実施を依頼した場合は、その名前と所属、役割等を記載すること。
- ・ 上記の協力を受けた研究者の個人名や所属については原則として公開しない。

8. 参考文献

- ・ 使用した参考文献について記載する。

別添

0. 要旨

分析対象技術名 [1.1 節]	
他国の医療技術評価機関における評価結果 [1.8 節]	
対象とする疾患・集団 [2.1 節]	
比較対照技術名 [2.2 節]	
分析の立場と費用の範囲 [2.3 節]	
使用する効果指標 [2.4 節]	
設定した分析期間 [2.5 節]	
割引率 [2.6 節]	
システマティック・レビューのクリニカルクエスチョン [3.1 節]	
システマティック・レビュー結果の概要 [3.2 節]	
メタアナリシス実施の有無 [3.5 節]	
間接比較実施の有無 [3.6 節]	
費用対効果の分析方法の概要 [4.1.1 項、4.2 節等]	
分析に使用した臨床研究の概要 [4.1.2 節]	
結果の概要 [5.1 節~5.5 節]	

1.5 使用方法等

	(例)
投与経路	経口
投与方法	医薬品 A と併用する
投与量	10mg~20mg
投与頻度	毎日
平均的な投与期間(あるいはサイクル数)	約半年
平均投与量	15mg/day

(医療機器の場合は、上記にあてはまらない場合もあるため、その場合は、製品特性に応じた使用方法等を記載すること)

2.7 分析条件の設定の要約

	(例)
分析対象とする集団	疾患 A をもち、標準療法(治療 B)が無効であった患者
比較対照	無治療
分析の立場と費用の範囲	公的医療の立場 公的医療費のみ
効果指標	QALY、生存年
分析期間	生涯
割引率	費用・効果ともに年率 2%

3.1 システマティックレビュー

・ システマティックレビューの詳細

	(例)
対象集団	疾患 A で治療 B が無効になった患者
介入	医薬品 C
比較対照	無治療 (プラセボ等)
アウトカム	生存期間
研究デザイン	ランダム化比較試験

その他	観察期間が1年以上
-----	-----------

・ 同定した臨床研究(論文)の一覧表

臨床試験名	対象集団	介入	比較対照	研究デザイン	Reference

・ 同定した臨床研究(論文)の詳細表

【試験 1】		(例)
試験を実施した場所		日本、米国等 5 カ国
参加者の募集期間		2001 年 4 月から 2002 年 12 月
対象集団		疾患 A を持つ 40 歳以上の患者
主な除外基準		治療 B を受けている患者
介入方法の詳細		医薬品 C 10mg を 1 日 2 回、16 週間にわたって投与する。
比較対照の詳細		プラセボ
試験デザイン		ランダム化比較試験。遺伝子型 D を層別因子として割り付け。
盲検化法		二重盲検法
主要評価項目		40 週時点での臨床検査値 E
主な副次評価項目		HRQOL、有害作用等
統計解析手法		ベースライン値を補正した共分散分析
サンプル数		医薬品 C 群: n=450、プラセボ群: n=442
フォローアップ期間		平均 43 週
主な人口統計学的性質		年齢: 平均 55 歳、性別: 男性 70%...
主要評価項目の結果		臨床検査値 E の群間差は-18 [95% CI: -24, -12]

主な副次評価項目の結果	HRQOL 値の群間差は 3 [95% CI: -5, 12]。主な有害事象は有意差なし。
試験の限界	<ul style="list-style-type: none"> ・ 比較的軽度の患者のみ含まれている。 ・ 臨床検査値では差があるが、HRQOL では有意差がない。

4.1.1 時点ごとの生存率

時点(週)	生存率	at risk 数	イベント数	打ちきり数
-------	-----	-----------	-------	-------

(例)

時点(週)	生存率	at risk 数	イベント数	打ちきり数
0	1	100		
1.5	0.99	99	1	
1.8	0.99	98		1
		...		
52	0.34	10		1

4.1.2 分析で使ったパラメータ

変数名	値	(該当する場合) 95% CI	分布	設定根拠
(例) 年齢	57 歳	-	-	2.1 で設定した分析対象集団
(例) 全生存期間	25 ヶ月	-	ワイブ ル (scale,	3.2 で同定したランダム化比較試験

			shape)	
(例) 評価対象技術の有効性(ハザード比)	0.65	0.54-0.76	対数正規 (μ, σ^2)	3.2 で同定したランダム化比較試験
(例) 健康状態 A の QOL 値	0.71	0.62-0.77	正規 (μ, σ^2)	
(例) 評価対象技術の一月あたり費用	100,000 円	-	対数正規(μ, σ^2)	

4.2 (該当する場合は)QOL 評価の詳細

変数名	測定国	測定した集団の詳細	使用した尺度	測定者数	reference
(例)健康状態 A の QOL 値	日本	疾患 A を持つ集団で、治療等には制限なし。平均年齢 60 歳。	EQ-5D-5L	n=60	[12]

4.3 費用の算出根拠

【治療 A の費用】

項目名	単価	数量	小計
(例) D007 血液化学検査 5. LDL-コレステロール	180	1	180
(例) D026 検体検査判断料 3 生化学的検査(I)判断料	1,440	1	1,440
		総計	9,690

5.1 増分費用、増分効果、増分費用効果比(ICER)

(例 1) 効果指標が生存年の場合

	効果 (年)	増分効果 (年)	費用 (円)	増分費用 (円)	ICER(円/年)
評価対象技術					
比較対照技術					

(例 2) 効果指標が QALY の場合

	効果 (QALY)	増分効果 (QALY)	費用 (円)	増分費用 (円)	ICER(円 /QALY)
評価対象技術					
比較対照技術					

・ 費用の内訳の詳細

	評価対象技術	比較対照技術
(例) 医薬品 A の投与費用		
(例) 画像検査費用		
(例) 有害事象への対処費用		
(例) 手術費用		
...		

・ 5.4 感度分析

	パラメータの範囲		ICER の範囲	
	下限	上限	下限	上限
(例) パラメータ A				
(例) パラメータ B				
(例) パラメータ C				
...				

6. 再分析用のデータ

使用したソフトウェア	バージョン	ファイル名	提出メディア

3) 医薬品及び医療機器の費用対効果評価に関する取扱いについて

1 既収載品に係る費用対効果評価の手続き

(1) 対象品目の指定

中央社会保険医療協議会の定める以下の選定基準に基づき、費用対効果評価専門部会において指定・公表されたものとする。

次の全ての要件を満たす品目を対象とする。なお、②においてイの i、イの ii、ロの i 及びロの ii は、それぞれ 1 品目が該当するものとし、複数該当する場合は、医薬品についてはピーク時予測売上高がより高いもの、医療機器については償還価格がより高いものとする。また、②においてイの i と ii に該当する品目が一致する場合は当該 1 品目とし、また、ロの i と ii に該当する品目が一致する場合も当該 1 品目とする。

① 以下のいずれにも該当しないこと。

- イ 治療方法が十分に存在しない希少な疾患（指定難病、血友病及び HIV 感染症）に対する治療にのみ用いるもの
- ロ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」又は「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」における検討結果を踏まえ厚生労働省が行った開発要請又は公募に応じて開発されたもの

② 以下のいずれかに該当すること。

- イ 平成 24 年度から平成 27 年度までの間に保険適用された品目であって、類似薬効比較方式又は類似機能区分比較方式で算定されたもののうち、
 - i 補正加算の加算率が最も高いもの
 - ii 10%以上の補正加算が認められたものの中で、医薬品についてはピーク時予測売上高が最も高いもの、医療機器については保険償還価格が最も高いもの
- ロ 平成 24 年度から平成 27 年度までの間に保険適用された品目であって、原価計算方式で算定されたもののうち、
 - i 営業利益率の加算率が最も高いもの
 - ii 10%以上の加算が認められたものの中で、医薬品についてはピーク時予測売上高が最も高いもの、医療機器については保険償還価格が最も高いもの

これによって選定された品目の薬理作用類似薬及び同一機能区分に該当する医療機器も対象とする。

(2) 分析結果等の提出

① 対象品目に関するデータ提出

対象品目の製造販売業者は、対象品目について、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン（平成 27 年度厚生労働科学研究費補助金（政策科学総合研究事業）「医療経済評価の政策応用に向けた評価手法およびデータの標準化と評価のしくみの構築に関する研究」（研究代表者：国立保健医療科学院 医療・福祉サービス研究部部長 福田 敬）」（平成 28 年 1 月 20 日中央社会保険医療協議会総会了承）（以下「ガイドライン」とい

う。)に基づき費用効果分析を実施し、分析方法、条件及び分析結果を示すデータ(以下「データ」という。)を提出すること。

② 分析方法等に関する事前相談と費用対効果評価専門組織の事前確認

評価の一連の流れを効率的に進めることを目的として、分析を開始する前に、分析手法等について、別に定める方法により事前相談を行うものとする。なお、ガイドラインに基づく標準的な分析方法以外の分析方法を取る場合等には、費用対効果評価専門組織において分析方法等の妥当性等について予め確認を行う。

③ 提出時期

中央社会保険医療協議会において定められた期限までに提出すること。

④ 製造販売業者の評価希望がある品目について

対象品目以外の医薬品及び医療機器についても、製造販売業者が希望する場合は、任意でデータを提出することができる。その際の前相談及び提出時期についても、それぞれ②及び③に準じた取扱いとする。

(3) 再分析の実施

製造販売業者が提出したデータについて、公的な専門体制により中立的な立場から再分析を実施する。再分析の実施に当たっては、公的な専門体制と連携した外部の専門家ら(以下「再分析グループ」という。)が主として再分析を実施する。

(4) 費用対効果評価専門組織の関与

製造販売業者及び再分析グループの分析結果を審査の上、次の手順に従い、費用対効果評価に関する取扱いを決定する。

① 製造販売業者及び再分析グループにより示された増分費用効果比(ICER)等の分析結果を踏まえ、次の事項について費用対効果評価専門組織の専門的見地からの総合的評価を経て、評価結果案を策定する。

ア 製造販売業者から提出されたデータの分析方法等の科学的な妥当性

イ 再分析グループの分析方法等の科学的な妥当性

ウ 分析結果を倫理的、社会的影響等に関する観点から評価する場合の問題点等

エ 追加的な分析方法による分析についての必要性の有無

オ 評価結果案の妥当性

カ 評価結果案に対する製造販売業者の不服の妥当性

② データを提出した製造販売業者であって、費用対効果評価専門組織における意見陳述を希望するものは、予め定められた時間の範囲内で費用対効果評価専門組織に出席して直接の意見表明を行うことができる。この際、当該品目のデータ作成に関与した者が製造販売業者に同行して意見を表明することができる。

③ 総合的評価の結果、更に別の分析方法での分析についても検討を行う必要があると判断された場合は、その理由とともに改めて分析を実施することを再分析グループ等に指示することとする。

④ 費用対効果評価専門組織の総合的評価を経た評価結果案については、その理由を付して当該品目の製造販売業者に通知する。

⑤ 通知した評価結果案について不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式1に定め

る評価結果案不服意見書を別に指定する期限までに提出することができる。なお、通知された評価結果案が適当ではないと主張する理由について、説明する資料を添付することとする。なお、分析方法に関する主張を行う場合は、ガイドラインに基づいて説明する資料を添付することとする。

- ⑥ 評価結果案不服意見書を提出した製造販売業者は、予め定められた時間の範囲内で費用対効果評価専門組織に出席して直接の意見表明を行うことができる。この際、当該品目のデータに関与した者が製造販売業者に同行して意見を表明することができる。
- ⑦ 当該意見を踏まえ費用対効果評価専門組織において検討を行い、再度評価結果案を決定する。この評価結果案を予め製造販売業者に通知し、更に不服の有無を確認する。
- ⑧ 製造販売業者の不服の有無にかかわらず、費用対効果評価専門組織によりとりまとめられた評価結果は、中央社会保険医療協議会において今後検討が行われる方法により、薬価又は特定保険医療材料の価格調整に用いる。

2 新規収載品に係る費用対効果評価の手続き

(1) 対象品目

保険適用希望時に企業の希望する算定価格等に係る取扱いが、中央社会保険医療協議会の定める以下の選定基準に合致している場合に、当該品目を対象とする。

なお、当該品目の保険適用の時期については、費用対効果評価の手続きの終了を待たず、「医療用医薬品の薬価基準収載等に係る取扱いについて」（平成 28 年 2 月 0 日医政発 020 第 0 号、保発 020 第 0 号）及び「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」（平成 28 年 2 月 0 日医政発 020 第 0 号、保発 020 第 0 号）等により取り扱う。

次の全ての要件を満たす品目を対象品目とする。

① 以下のいずれにも該当しないこと

- イ 治療方法が十分に存在しない希少な疾患（指定難病、血友病及び HIV 感染症）に対する治療にのみ用いるもの
- ロ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」又は「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」における検討結果を踏まえ厚生労働省が行った開発要請又は公募に応じて開発されたもの

② 以下のいずれかに該当すること

- イ 類似薬効比較方式又は類似機能区分比較方式で 10%以上の補正加算を希望する品目であって、別に中央社会保険医療協議会で定めるピーク時予測売上高以上のもの
- ロ 原価計算方式で 10%以上の営業利益率の加算を希望する品目であって、別に中央社会保険医療協議会で定めるピーク時予測売上高以上のもの

(2) 分析結果等の提出

① 対象品目に関するデータ提出

対象品目の製造販売業者は、対象品目について、ガイドラインに基づき費用効果分析を実施し、データを提出すること。ただし、ガイドラインに基づく費用効果分析の実施が困難な場合には、その理由とともに、可能な範囲でガイドラインに基づき分析を実施し、データを提出すること。

- ② 分析方法等に関する事前相談
製造販売業者が希望する場合には、分析を開始する前に、分析手法等について、別に定める方法により事前相談を行うことができる。
- ③ 提出時期
薬価基準収載希望書又は医療機器保険適用希望書の提出時に併せて提出すること。
- ④ 製造販売業者の評価希望がある品目について
対象品目以外の医薬品及び医療機器についても、製造販売業者が希望する場合は、任意でデータを提出することができる。その際の事前相談及び提出時期についても、それぞれ②及び③に準じた取扱いとする。

(3) 再分析の実施

製造販売業者が提出したデータについて、公的な専門体制により中立的な立場から再分析を実施する。再分析の実施に当たっては、公的な専門体制と連携した再分析グループが主として再分析を実施する。

(4) 費用対効果評価専門組織の関与

製造販売業者及び再分析グループの分析結果を審査の上、次の手順に従い、中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部に報告する。

- ① 製造販売業者及び再分析グループにより示された増分費用効果比（ICER）等の分析結果を踏まえ、次の事項について費用対効果評価専門組織の専門的見地からの総合的評価を経て、報告要旨案を策定する。
 - ア 製造販売業者から提出されたデータの分析方法等の科学的な妥当性
 - イ 再分析グループの分析方法等の科学的な妥当性
 - ウ 分析結果を倫理的、社会的影響等に関する観点から評価する場合の問題点等
 - エ 追加的な分析方法による分析についての必要性の有無
 - オ 報告要旨案の妥当性
 - カ 報告要旨案に対する製造販売業者の不服の妥当性
- ② データを提出した製造販売業者であって、費用対効果評価専門組織における意見陳述を希望するものは、予め定められた時間の範囲内で費用対効果評価専門組織に出席して直接の意見表明を行うことができる。この際、当該品目のデータ作成に関与した者が製造販売業者に同行して意見を表明することができる。
- ③ 総合的評価の結果、更に別の観点からの分析方法での分析についても検討を行う必要があると判断された場合は、その理由とともに改めて分析を実施することを再分析グループ等に指示することとする。
- ④ 費用対効果評価専門組織の総合的評価を経た報告要旨案を、中央社会保険医療協議会に報告する前に、その理由を付して当該品目の製造販売業者に通知する。
- ⑤ 通知した報告要旨案について不服がある製造販売業者は、1回に限り、別紙様式2に定める報告要旨案不服意見書を別に指定する期限までに提出することができる。この場合、通知された報告要旨案が適当ではないと主張する理由について、説明する資料を根拠とともに添付する。なお、分析方法に関する主張を行う場合は、ガイドラインに基づいて説明する資料を添付することとする。

- ⑥ 報告要旨案不服意見書を提出した製造販売業者は、予め定められた時間の範囲内で費用対効果評価専門組織に出席して直接の意見表明を行うことができる。この際、当該品目のデータに関与した者が製造販売業者に同行して意見を表明することができる。
- ⑦ 当該意見を踏まえ費用対効果評価専門組織において検討を行い、再度報告要旨案を決定する。この報告要旨案を予め製造販売業者に通知し、更に不服の有無を確認する。
- ⑧ 製造販売業者の不服の有無にかかわらず、費用対効果評価専門組織による検討の内容（製造販売業者の不服の有無を含む。）は、中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会に報告することとし、今後の制度に係る検討の際に用いることとするが、価格の調整には用いない。

3 適用

この取扱いについては、平成28年4月1日以後に適用する。ただし、2については、別に中央社会保険医療協議会でピーク時予測売上高を定める際に、併せて適用時期を定めることとする。

評価結果案不服意見書

品目名 _____

通知された評価結果案
評価結果案に対する意見及びその根拠

上記により通知された評価結果案に対する意見を提出します。

年 月 日

住所

法人にあつては、主
たる事務所の所在地
氏名

法人にあつては、名
称及び代表者の氏名

厚生労働大臣 殿

印

報告要旨案不服意見書

品目名 _____

通知された報告要旨案

報告要旨案に対する意見及びその根拠

上記により通知された報告要旨案に対する意見を提出します。

年 月 日

住所

(法人にあつては、
主たる事務所の所在地)

氏名

(法人にあつては、
名称及び代表者の氏名)

厚生労働大臣 殿

4) Guideline for Preparing Cost-Effectiveness Evaluation to the Central Social Insurance Medical Council

Guideline for Preparing Cost-Effectiveness Evaluation to the Central Social Insurance Medical Council

Version 1.0 January 2016

Prepared by: Study Team for “Establishing Evaluation Methods, Data Standardization, and Assessment Systems Toward the Application of Economic Evaluation of Healthcare Technologies to Governmental Policies” (Team Leader: Takashi Fukuda); Supported by Health and Labour Science Research Grants (Strategic Integrated Scientific Research Project)

The English version is a translation of the original version in Japanese. The Japanese version is preferentially applied in cases of discrepancy between the two versions.

Contents

1 Objectives	91
2 Perspective of analysis	92
3 Target population	93
4 Comparator(s).....	94
5 Additional benefit in effectiveness/safety	95
6 Methods of analysis	97
7 Time horizon.....	99
8 Choice of outcome measure	100
9 Sources of clinical data	102
10 Calculation of costs	103
11 Long-term care costs and productivity loss	106
12 Discounting.....	108
13 Modeling	109
14 Uncertainty.....	110
15 Reporting/publication	111
Terminology	112