

医療技術評価の例としての「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン委員会文書」和訳

東京女子医科大学衛生学公衆衛生学 准教授 小島原典子

## 研究要旨

本研究ではわが国の診療ガイドラインの推奨に医療経済を取り入れるか検討することを目的として、医療技術評価の例として「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン[ID1069]委員会文書」を和訳した。

### A．研究目的

希少疾患における診療ガイドラインの作成においてもGRADEシステムが取り入れられるようになってきたが、医療経済の評価は十分とは言えない。本研究ではわが国の診療ガイドラインの推奨に医療経済を取り入れるか検討することを目的とした。

### B．研究方法

NICEの医療経済評価について英国を訪問して討議し、医療技術評価の例として「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン[医療技術評価の例として「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン(1)[TA588]委員会文書」を和訳した。](1)委員会文書」を和訳した。

（倫理面への配慮）  
該当せず。

### C．研究結果

「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン[TA588]委員会文書」のうち、スライド40から79までをNICEの許可を得て表1に示す。但し、44.45は著作権により翻訳不許可であった。

### D．考察

NICEの医療経済評価の和訳を行ったが、この結果を日本のSMA診療ガイドライン作成マニュアル2020（2）にて加筆予定であるが、保険診療の点数を記載するなどが考えられる。介護、医療資源、副作用の治療のための費用なども将来的には評価する方法が開発されることが期待される。

### E．結論

「脊髄性筋萎縮症の治療のためのヌシネルセン[TA588]委員会文書」を部分的に和訳した。我が国のSMA診療ガイドラインの推奨作成に使用する許可は得られなかったが、医療経済評価を我が国の診療ガイドラインに取り入れる課題が明らかとなった。

### 参考文献

- （1）Nusinersen for treating spinal muscular atrophy. Technology appraisal guidance [TA588]  
Published date: 24 July 2019 <https://www.nice.org.uk/guidance/ta588>  
（2）Mindsガイドラインライブラリ<https://minds.jcqh.or.jp/s/developer-manual>

### F．研究発表

1. 論文発表  
なし
2. 学会発表  
なし  
（発表誌名巻号・頁・発行年等も記入）

### G．知的所有権の取得状況

1. 特許取得  
なし
2. 実用新案登録  
なし
3. その他  
なし