

分担研究課題：新規疾患スクリーニングの費用対効果分析  
先天性サイトメガロウイルス感染症マスキングプログラムの費用効果分析

研究分担者：星野 絵里（国立成育医療研究センター研究所政策科学研究部政策評価研究室・室長）  
此村 恵子（国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター・主任研究官）

研究要旨

わが国では新生児マスキング対象疾患の拡大検討が進められており、先天性サイトメガロウイルス感染症も候補疾患の一つである。本研究では、先天性サイトメガロウイルス感染症に対する新生児スクリーニングについて医療経済的に評価することを目的とし、分析モデルを構築した。モデル構築において、国内における QOL 値や各症状、治療効果などのデータが不足していることが明らかとなり、今後のデータの収集が望まれる。

研究協力者

田中 素子（国立成育医療研究センター研究所  
政策科学研究部・研究員）

A. 研究目的

日本では現在、新生児マスキング（NBS）の検査手法開発や新規治療方法の登場により、NBS対象疾患の拡大が議論されている。先天性サイトメガロウイルス（cCMV）感染症は候補疾患の一つであり、2018年に尿検体を用いた検査手法が、2023年には抗ウイルス薬のバルガンシクロビルが治療薬として保険適用となった。

令和5年度は、cCMV感染症に対する日本の医療環境を反映した医療経済評価を行う上での分析上の特徴や留意点を整理することを目的とし、先行研究のシステマティックレビューを実施した[1]。この抽出された要点を基に、最新のデータも用いて費用効果分析の分析モデルを構築し、cCMV感染症に対する新生児スクリーニングの医療経済評価を実施することを目的とした。

B. 研究方法

分析手法として費用効果分析を採用した。費用効果分析とは、効果の指標に質調整生存年（quality-adjusted life years, QALYs）を利用し、分析対象と比較対照の費用と効果の差分を用いて、増分費用効果比（incremental

cost-effectiveness ratio, ICER）を推定する手法である。QALYs は生存年数に対して quality of life (QOL) で重みづけをした指標で、患者の生存期間中の QOL を考慮するものである。分析手法は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[2]を参考に検討した。

（倫理面への配慮）

公表資料のみを利用するため該当なし。

(1) 分析の枠組み

分析の対象となるスクリーニングプログラムは、聴覚スクリーニングによってリファー（refer）となった新生児へのcCMV検査を実施する標的スクリーニング（targeted screening）とした。比較対照はスクリーニングを行っていない状況（no screening）とした。

分析の立場は、新生児マスキングが都道府県および指定都市を実施主体とする公共事業であることから、保健医療費支払者の立場を採用することが適切と考えた。

対象集団は全新生児とし、すべての新生児が聴覚スクリーニングを受検し、その結果によってcCMVスクリーニングを受診することとした。分析の期間については、生涯と設定した。

分析モデルは、決定樹モデルおよびマルコフモデルによって構築することとした。分析モデルの詳細については後述する。割引率は年率

2%とし、TreeAge Pro 2024を利用して分析を行った。

## (2) 分析モデル

分析モデルの構築にあたり、先行研究の参照およびその課題の検討、臨床専門家へのヒアリング等を行った。その結果、決定樹モデルでは、各スクリーニングによる疾患の早期発見、cCMV感染症の症候性または無症候性、難聴症状の有無、バルガンシクロビルによる早期治療の有無に関する枝分かれを設定した。決定樹モデルに続くマルコフモデルでは、聴覚症状なし、軽度・中等度難聴症状あり、重度難聴症状あり、人工内耳装着、死亡の5ステージを設定した。

## (3) パラメータ

分析モデルに用いるパラメータについては以下の内容について検討を行った。

### (3-1) 費用

#### ① 検査費用

cCMVスクリーニングおよび聴覚スクリーニングにかかる費用は、令和6年度診療報酬点数より算出し、cCMVスクリーニングはサイトメガロウイルス核酸検出801点、聴覚スクリーニングは脳誘発電位検査850点を用いた。

#### ② 治療費

株式会社JMDCから提供を受けたレセプト情報（入院、DPC、外来、調剤）から算出した。2005年1月から2023年6月の間に、サイトメガロウイルス感染症に関する特定の傷病名をもつ患者のうち、生後1年以内にサイトメガロウイルス感染症治療薬（ガンシクロビルまたはバルガンシクロビル）の記録をもつ者を対象集団とした。

### (3-2) 効果の指標

本研究における効果の指標はQALYsである。QALYsの算出には生存年データおよびQOL値が必要となり、医療経済評価において一般的に利用されるQOL値は、妥当性の確認されたQOL測定尺度によって測られたものである。

日本における難聴に関するQOL値データが得られなかったため、海外で実施された研究データを参照することとした。論文のレビューにあ

たっては、①患者対象が小児であること（保護者らによる代理回答を含む）、②サンプル数が1名以上であること、③QOL値測定尺度が医療経済評価において広く使用されているものであること、④難聴の症状レベル別のQOL値が報告されていること、⑤出版言語は英語で執筆された論文であること、の5つを適格基準とした。レビューにおける主要評価項目は、各研究で報告されたQOL値、使用されたQOL調査の尺度、調査対象患者の背景情報とした。対象集団やRisk of bias等を考慮して選択した。生存年は生命表を利用して算出した。

### (3-3) 罹患率および発生率

cCMV感染症の罹患率は、先天性サイトメガロウイルス感染症診療ガイドライン2023[3]より選択した。cCMV感染症における症候性と無症候性の割合、cCMV感染児に占める難聴の発生率および症状別割合はガイドライン及び文献レビューにより決定した。

### (3-4) 移行確率

移行確率については、文献レビューの結果より一定の仮定をおくこととした。

### (3-5) 検査の感度と特異度

スクリーニングにおける検査の感度および特異度は、先行研究や資料より報告のあるものを利用することとした。

## C. 研究結果

本年度は、各ガイドラインおよび文献レビューの結果をもとに、図1および図2に示した分析モデルを構築し、表1に示すパラメータについて検討を行った。また、分析モデルの臨床的妥当性を検証するため、臨床専門家との検討の場を設けるなど、モデル構造およびパラメータの精緻化を継続的に実施している。

## D. 考察（課題）

モデル構築にかかる研究の限界として、利用可能なデータの不足によるパラメータの不確実性が挙げられる。

今回の分析で用いたQOL値は、日本人を対象とした十分なデータが存在しないため海外のQOL値データを外挿しており、さらに費用対効

果評価の分析ガイドラインにおいて使用優先度の低いQOL測定尺度によって測られたQOL値データを用いるという点の課題がある。さらに、今回の分析ではcCMV感染症における健康状態を難聴のみとしたが、その他のcCMV感染症に特有の症状についてのQOL値を評価した妥当な研究データが存在しないため、分析モデルには組み込むことができなかった。小児を対象としたQOL値の測定については世界的にも課題が多いことが知られているが、新生児の生涯にわたる推計を要する、新生児マスキング領域においては、QOL値の適切な測定は非常に重要な観点である。分析の不確実性を減らすため、QOL値の測定方法に関する継続的な検討が必要と考える。

NBSの拡大という観点から、全新生児を対象としたスクリーニング (universal screening) を介入対象として評価することについても検討を行った。しかし、universal screeningを評価するための十分なデータが得られず、特に、cCMVスクリーニングによって早期発見された無症候性感染児への治療方法やその効果が定量的に示されていなかった。そのため、現時点でuniversal screeningをモデル化することには大きな不確実性が伴うことから、評価が困難であると判断した。

以上より、日本の現状に即した精緻な医療経済評価を行うためには、疾患の疫学・スクリーニング検査の性能・早期発見による治療の有効性等、将来的なエビデンスの収集が必要と考える。

#### E. 結論

難聴を有するcCMV感染新生児へcCMVスクリーニングを実施する標的スクリーニングの費用対効果を評価するため、分析モデルを構築した。令和7年度はパラメータなどの精緻化を進め、最終的な分析結果を提示する。モデル構築における課題として、利用可能なデータの不足、特に国内における難聴のQOL値データ不足による不確実性が挙げられる。QOL値データの不足という点については、cCMV感染症のみならず、他の拡大NBSの候補疾患についても同様であり、医療経済評価をより精緻に行うためには、各疾患における国内QOL値データの取得が重要であると考えられる。

#### F. 研究発表

##### 1. 論文発表

- 1) Saito H, Sakai K, Tanaka M, Konomura K, Suzuki M, Tajima G, Hoshino E. Economic evaluation of newborn screening for congenital cytomegalovirus infection: A systematic review. Eur J Pediatr. 2025 Jan 9;184(1):123.

##### 2. 学会発表

- 1) 田中素子, 齊藤寛貴, 堺琴美, 此村恵子, 鈴木光幸, 但馬剛, 星野絵里. 先天性サイトメガロウイルス感染症マスキングの医療経済評価. 第 51 回日本マスキング学会学術集会, 2024, 熊本
- 2) Tanaka M, Saito H, Sakai K, Konomura K, Suzuki M, Tajima G, Hoshino E. Cost-Effectiveness of Targeted Newborn Screening for Congenital Cytomegalovirus Infection in Japan. ISPOR Europe 2024, 2024, Spain

#### G. 知的財産権の出願・登録状況

該当案件なし

#### 参考文献

1. Saito H, Sakai K, Tanaka M, Konomura K, Suzuki M, Tajima G, Hoshino E. Economic evaluation of newborn screening for congenital cytomegalovirus infection: A systematic review. Eur J Pediatr. 2025 Jan 9;184(1):123.
2. 医薬品・医療機器の費用対効果評価における分析ガイドラインの改定に資する研究班. 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 2024 年度版. 保健医療経済評価研究センター (<https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/index.html>)
3. 日本医療研究開発機構 成育疾患克服等総合研究事業－BIRTHDAY 症候性先天性サイトメガロウイルス感染症を対象としたバルガンシクロビル治療の開発研究班 編集. 先天性サイトメガロウイルス感染症診療ガイドライン 2023. 診断と治療社.

4. Barton GR, Stacey PC, Fortnum HM, Summerfield AQ. Hearing-impaired children in the United Kingdom, IV: cost-effectiveness of pediatric cochlear implantation. *Ear Hear.* 2006 Oct;27(5):575-88.
5. Morioka I, Kakei Y, Imai T, et al. Three-year hearing outcomes in infants with congenital cytomegalovirus disease treated with oral valganciclovir: Interim results of a six-year follow-up study in Japan. *J Clin Virol.* 2025 Apr;177:105778.
6. Rosenthal LS, Fowler KB, Boppana SB, et al. Cytomegalovirus shedding and delayed sensorineural hearing loss: results from longitudinal follow-up of children with congenital infection. *Pediatr Infect Dis J.* 2009 Jun;28(6):515-20.

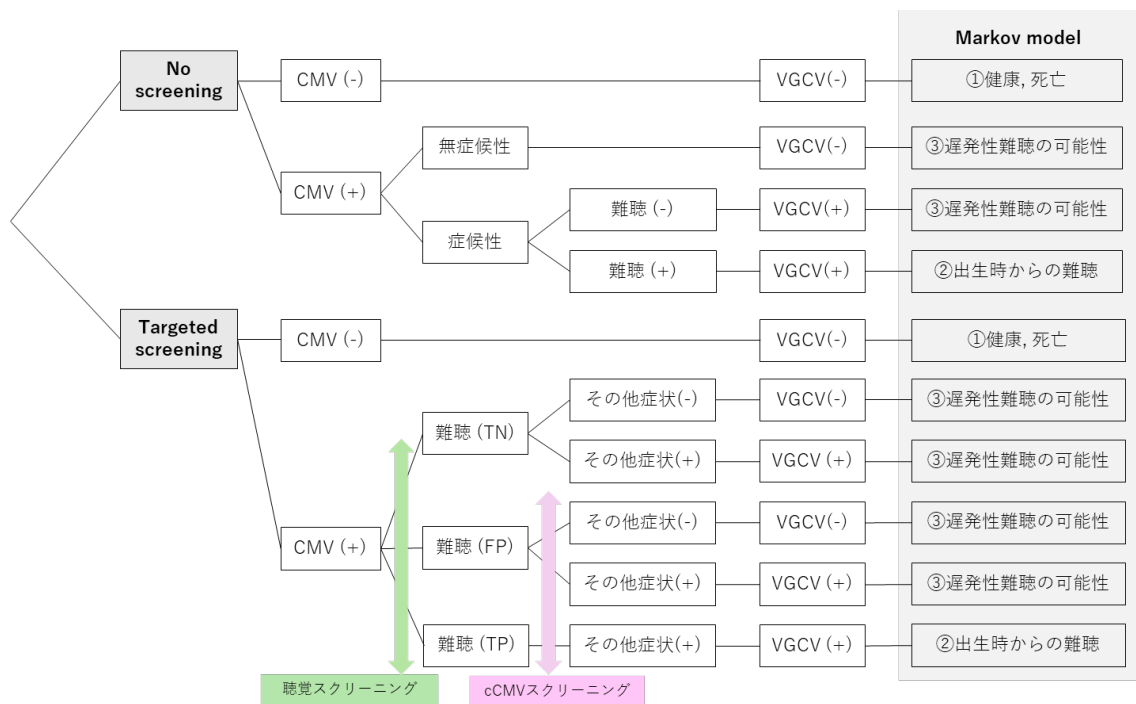


図 1. 決定樹モデル

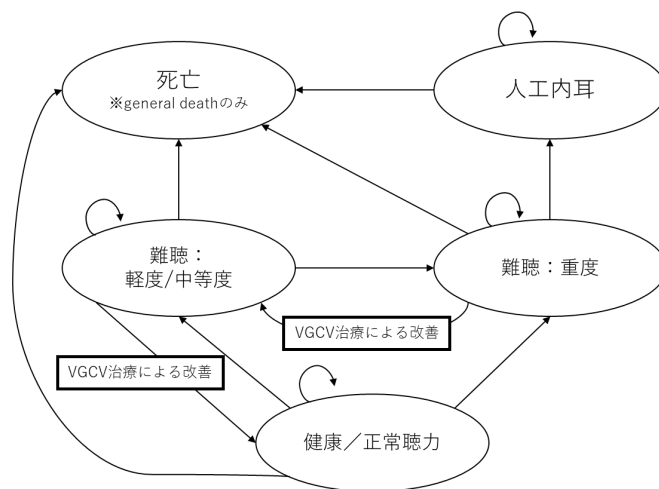


図 2. マルコフモデル

表 1. 主なパラメータ

| 変数                      |               | 参考文献        |
|-------------------------|---------------|-------------|
| 聴覚スクリーニングの検査費用          | 8,500 円       | 診療報酬点数 2024 |
| cCMV スクリーニングの検査費用       | 8,010 円       | 診療報酬点数 2024 |
| QOL 値：軽度／中等度の難聴         | 0.677         | [4]         |
| QOL 値：重度の難聴             | 0.616         | [4]         |
| QOL：人工内耳装着              | 0.575         | [4]         |
| cCMV 感染の罹患率             | 0.31 %        | [3]         |
| 症候性 cCMV の割合            | 23.9 %        | [3]         |
| 難聴：軽度または中等度 の割合         | 85.00 %       | [5]         |
| 難聴：重度 の割合               | 15.00 %       | [5]         |
| 難聴症状の変化：正常から軽度・中等度      | 4.35～37.5 %   | [5]         |
| 難聴症状の変化：正常から重度          | 0.00 %        | [5]         |
| 難聴症状の変化：軽度・中等度から正常      | 23.53～35.29 % | [5]         |
| 難聴症状の変化：軽度・中等度から重度      | 5.88～8 %      | [5]         |
| 難聴症状の変化：重度から軽度・中等度      | 0～33.33 %     | [5]         |
| 難聴症状の変化：重度から人工内耳装着      | 50 %          | ※仮定値        |
| 遅発性難聴の発生率：症候性 cCMV 感染症  | 0～11.24 %     | [6]         |
| 遅発性難聴の発生率：無症候性 cCMV 感染症 | 0～2.13 %      | [6]         |
| 死亡率                     |               | 人口動態統計      |
| 聴覚スクリーニング：感度            | 100 %         | ※仮定値        |
| 聴覚スクリーニング：特異度           | 99 %          | ※仮定値        |
| cCMV スクリーニング：感度         | 100 %         | 製品添付文書      |
| cCMV スクリーニング：特異度        | 100 %         | 製品添付文書      |