

分担研究課題名：新規疾患スクリーニングの費用対効果分析  
**新生児マススクリーニング拡大候補疾患の医療経済評価レビュー：  
先天性サイトメガロウイルス感染症**

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

先天性サイトメガロウイルス感染症は新生児マススクリーニングプログラム拡大の候補疾患となっている。対象疾患の拡大を議論するにあたり医療経済的な観点からの情報も重要であることから、我が国における先天性サイトメガロウイルス感染症に対する新生児マススクリーニングプログラムの医療経済評価を実施する必要がある。これに先立ち、先行研究についてシステマティックレビューを行い、分析の特徴や留意点を整理した。その結果、4報の先行研究が見つかった。分析に用いるモデルの構造や quality of life 値、分析の立場に関する課題について整理した。

研究協力者

田中 素子（国立成育医療研究センター政策科学研究部政策評価研究室・研究員）

A. 研究目的

新生児マススクリーニングプログラム（NBS）は、新生児に対して実施される公衆衛生事業としての検査である。対象疾患を早期に特定し、早期の介入を実施することによって、その後に発生する重篤な障害の予防を目的としている。日本では1977年よりNBSが開始され、2014年にはタンデムマス法の導入により、19疾患へと大幅に拡大した。現在ではさらに1疾患を加えて20疾患が検査の対象となっている。近年、NBS検査手法の開発や新規の治療薬の登場により、さらなるNBSの拡張が議論されている。一方で、NBSの実施主体は各自治体であり、予算制約も大きい中でNBS事業の効率性を評価することは重要である。新たな候補疾患のひとつである、先天性サイトメガロウイルス感染に対する日本の医療環境を反映した医療経済評価を実施するに先立ち、分析上の特徴や留意点を整理することを目的として、先行研究を調査した。

B. 研究方法

医療経済評価に関する先行研究について、MEDLINE, Embase, CENTAL, EconLit, Cost-effective Analysis Registry by Tufts Medical Center, International HTA Database, NHS Economic Evaluation Database, Google Scholarを利用し、「先天性サイトメガロウイルス感染症」、「スクリーニング」、「経済評価」に関連するキーワードによって検索式を構築し、システマティックレビューを実施した。

（倫理面への配慮）

公表資料のみを利用するため該当なし。

C. 研究結果

文献検索の結果、重複を除く518報の文献を特定し、抽出作業を行った結果9報の文献についてフルテキストレビューを実施した。その結果、full economic evaluationを実施していたのが4報、partial economic evaluationを実施していたのが5報であった。本調査において評価すべき文献はfull economic evaluationに関するものであることから、4報についてレビューを行った（表1）[1-4]。文献は米国、中国、日本の医療環境において実施されていた。3

報は出生コホートを対象に実施する universal screening（新生児全員に対する polymerase chain reaction (PCR) 検査の実施）と targeted screening（聴覚スクリーニング後の PCR 検査）あるいはスクリーニングなしの比較であり、1報は出生コホートを対象集団とした targeted screening とスクリーニングなしを比較したものであった。利用されていた分析モデルはディシジョンツリーモデルのみが3報、ディシジョンツリーモデルとマルコフモデルの組み合わせが1報であった。効果の指標はケース回避あたりと質調整生存年（Quality adjustment life years: QALY）を取り扱ったものがそれぞれ2報であった。QALYを利用して報告されていたのは Aoki ら（2022）と Chen ら（2020）によるものであった[1, 2]。日本の医療環境において実施された医療経済評価である Aoki ら（2022）の報告では次のように報告されていた[1]。スクリーニングなしに対する universal screening は増分効果が596QALYs、増分費用が13億円で ICER が218万円/QALY であった。targeted screening に対する universal screening の結果は増分効果が478QALYs、増分費用が14億円で ICER が296万円/QALY といずれも費用対効果に優れると報告されていた。Chen ら（2020）においても費用対効果に優れると報告されていた[2]。

#### D. 考察

先行研究ではディシジョンツリーモデルを中心に実施された研究が主であった。先天性サイトメガロウイルス感染症のNBSは本疾患の早期発見・早期介入により、長期予後に影響のある合併症の発生を回避することを目的として実施することから、分析期間は長期あるいは生涯で設定すべきと考える。このため、分析モデルは疾患と合併症の健康状態を含む長期推計に適したマルコフモデル等を構築することを検討する。

QALYを効果指標として利用した研究は2件であった。これらの研究ではモデルの構造と quality of life (QOL) 値の取り扱いが異なっており、またどのようにQOL値を選択したかが不明確である。QOL値に関してはより適切な値を選択するため、文献レビューを実施したうえで実装することが望ましい。

日本の医療環境を対象としたNBSの医療経

済評価研究も報告されていた[1]。本研究には医療費に加え、教育費用や親の機会費用を含むより広い立場での評価であった。本研究班では意思決定者に対する情報提供を目的としていることから、NBSを実施する主体である自治体の立場における分析の実施を検討している。

#### E. 結論

先天性サイトメガロウイルス感染症に関する医療経済評価はいくつかの先行研究が見つかった。国内環境における費用効果分析も実施されており、今後はこれらの研究を参考にモデルを構築し、臨床専門家への相談や国内データの収集を行い、最新の状況に合わせた分析を実施する予定である。

#### F. 研究発表

1. 論文発表：なし
2. 学会発表
  - 1) 星野絵里. 胆道閉鎖症のスクリーニングの費用効果分析. 第126回日本小児科学会学術集会, 東京都, 2023/4/16 (一般演題口演: 演題番号 3-0-134)
  - 2) Eri Hoshino, Keiko Konomura, Kotomi Sakai, Takashi Fukuda, Go Tajima. Development of a model for quantitative assessment of newborn screening in japan using the analytic hierarchy process. 2023 APHL/ISNS Newborn Screening Symposium in Sacramento, CA, USA from 15-19 October 2023.

#### G. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

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

#### 参考文献

- 1) Aoki H, Bitnun A, Kitano T. The cost-effectiveness of maternal and neonatal screening for congenital cytomegalovirus infection in Japan. *J Med Virol*. 2023 Jan;95(1):e28391. doi: 10.1002/jmv.28391. PMID: 36484373.
- 2) Chen K, Zhong Y, Gu Y, et al. Estimated

- Cost-effectiveness of Newborn Screening for Congenital Cytomegalovirus Infection in China Using a Markov Model. *JAMA Netw Open*. 2020;3(12):e2023949. doi:10.1001/jamanetworkopen.2020.23949
- 3) Gantt S, Dionne F, Kozak FK, Goshen O, Goldfarb DM, Park AH, Boppana SB, Fowler K. Cost-effectiveness of Universal and Targeted Newborn Screening for Congenital Cytomegalovirus Infection. *JAMA Pediatr*. 2016 Dec 1;170(12):1173-1180. doi: 10.1001/jamapediatrics.2016.2016. PMID: 27723885.
- 4) Phillips VL, Xu J, Park A, Gantt S, Dedhia K. The cost-effectiveness of targeted screening for congenital cytomegalovirus in newborns compared to clinical diagnosis in the US. *Int J Pediatr Otorhinolaryngol*. 2023 Mar;166:111450. doi: 10.1016/j.ijporl.2023.111450. Epub 2023 Jan 28. PMID: 36773448.

表1 調査対象文献の概要

文献	Aoki et al. 2022[1]	Chen et al. 2020[2]	Gantt et al. 2016[3]	Phillips et al. 2023[4]
実施国	日本	中国	米国	米国
対象集団	出生コホート	出生コホート	出生コホート	出生コホート
分析の立場	Societal	Health care system	Societal	Health care system
分析期間	生涯	生涯	生涯	5年
対象技術	Universal screening	Universal screening	Universal screening	Targeted screening
比較対照	Targeted screening, No screening	Targeted screening	Targeted screening	No screening
感度分析	One-way sensitivity analysis	One-way sensitivity analysis	One-way sensitivity analysis	One-way sensitivity analysis
割引率	2%	3.5%	1%	3%
分析モデル	ディシジョンツリーモデル	ディシジョンツリーモデル および マルコフモデル	ディシジョンツリーモデル	ディシジョンツリーモデル
アウトカム	Cost, QALY, ICER	Cost, QALY, ICER	COST, Cases, ICER	Cost, Cases, Age, ICER