



2023年3月31日

[C2H2110] テデュグルチド(レベスティブ皮下注)

評価結果の概要

1. 効能・効果

短腸症候群

2. 薬価

2021年8月に薬価収載され、薬価は79,302円である(2023年3月時点)。原価計算方式に基づき算定され、補正加算は5%(有用性加算(II))及び10%(市場性加算(I))。費用対効果評価対象(H2)品目指定。

3. 費用対効果評価の分析枠組み

本製品は短腸症候群(SBS)に対して使用される。費用対効果評価専門組織(i)では、テデュグルチドの分析枠組みとして以下のように設定することが合意された。

分析対象集団	(a) 成人短腸症候群(Short Bowel Syndrome: SBS)患者 (b) 小児SBS患者
比較対照技術名	標準治療(評価対象技術: テデュグルチド+標準治療)

4. 追加的有用性の評価

システマティックレビューの結果、製造販売業者は集団(a)(b)について、SBSを対象とした臨床試験を参照し、テデュグルチドは、集団(a)(b)における比較対照技術に対して、奏功割合において有意な改善を認められたとして追加的有用性を有することを主張した。公的分析は追加的有効性の評価に重要な文献を追加すると共に、経静脈サポート(PS)の施行日数に重点を置きつつ、奏効割合、PS変化量、PSからの離脱を含めて包括的に評価した。

集団(a)における追加的有効性は、成人SBS患者を対象としたプラセボ対照のRCTであるCL0600-020試験(STEPS試験)を中心に評価した。STEPS試験の結果、プラセボ群である標準療法に対して、テデュグルチド群は、1週間あたりのPS施行日数が1日以上減少した患者の割合及び奏効割合およびPSの変化量において、統計学的有意差をもって優れることが示された。

集団(b)における追加的有効性は、小児 SBS 患者を対象としたプラセボ対照の RCT である TED-C14-006 試験(006 試験)を中心に評価した。006 試験はオープンラベルであるため、患者背景に不均衡が生じた可能性があり、その有効性は事後解析で評価されたものの、標準療法群に対してテデュグルチド群は、統計学的に有意に奏効患者が多いことが報告されており、1 週間あたりの PS 施行日数及び PS の減少量についても、テデュグルチド群の方が優れている傾向が示されている。以上の結果より、小児 SBS 患者については 006 試験のデザイン上の課題から、追加的有用性の程度に不確実性があるものの、公的分析は集団(a)(b)双方について、テデュグルチドの追加的有効性があると判断した。

5. 費用効果分析の結果

製造販売業者は、1 週間あたりの PS 施行日数に基づき、集団(a)では 9 つ、集団(b)では 5 つの健康状態からなるマルコフモデルを構築し、費用効果分析を実施した。

公的分析は、まず双方の集団において、PS を離脱したすべての患者がテデュグルチド治療を再度受けないとする仮定は必ずしも臨床的に妥当でないことから、CL0600-004 試験(004 試験)の長期観察研究結果に基づき、一部の PS 離脱者が長期的にテデュグルチド治療を継続するものとした。

また、PS 施行日数の減少に関する効果の長期予測について、製造販売業者は小児では 2年、成人では 5 年間は改善が生じうると仮定していた。しかし、この設定の根拠や妥当性は明確ではないことから、公的分析は、集団(a)では STEPS 試験の非盲検長期継続投与試験 STEPS-2 試験、集団(b)では 006 試験で観察される期間以降は状態遷移が生じない仮定で分析を行った。

上記の公的分析の提出を受けて、小児の希少疾患において不確実性の大きな情報の取り扱いには留意が必要であることを鑑みて、治療効果の長期予測について更なる検討の余地があるものと科学院は考えた。そこで、分析モデルの再検討や新たな情報収集及び製造販売業者への照会等の作業を継続して実施した結果、集団(a)(b)双方について、分析モデル上の全てのSBS 患者における一定割合が長期的に継続する設定が妥当であると考えた。一方で、効果の長期予測については製造販売業者の見解を受け入れた。その結果、ICERは以下の通りとなった。科学院は、この結果を最終的な公的分析結果として採用した。

対象集団	比較対象技術	ICER (円/QALY)
(a) 成人 SBS 患者	標準治療(評価対象技術: テデュグルチド+標準治療)	88,522,201
(b) 小児 SBS 患者	標準治療(評価対象技術: テデュグルチド+標準治療)	9,533,412