



2023年11月24日

[C2H2204] エフガルチギモド アルファ (ウイフガート)

評価結果の概要

1. 使用目的又は効果

全身型重症筋無力症(ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る)

2. 薬価

2022年4月に薬価収載され、ウイフガート®点滴静注 400mg の薬価は 421,455 円である(2023年9月時点)。原価計算方式に基づいて算定され、有用性加算(II)が 5%、市場性加算(I)が 10%(加算係数は 0)であり、費用対効果評価の対象品目にカテゴリーH1 として指定された。

3. 費用対効果評価の分析枠組み

エフガルチギモド アルファは全身型重症筋無力症の症状改善を目的として使用される。費用対効果評価専門組織では、エフガルチギモド アルファの分析枠組みとして以下のように設定することが決定された。エフガルチギモド アルファの Pivotal 試験から、抗アセチルコリン受容体抗体の陽性及び陰性に依って治療成績が異なる可能性があるため、下表の分析対象集団(a)(b)を設定した。比較対照技術は、分析対象集団(a)(b)のそれぞれについて「プレドニゾロン±免疫抑制剤±アセチルコリンエステラーゼ阻害薬」と設定した。

分析対象集団	ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない以下の集団 (a) 抗アセチルコリン受容体抗体陽性の全身型重症筋無力症 (b) 抗アセチルコリン受容体抗体陰性の全身型重症筋無力症
--------	--

比較対照技術	分析対象集団(a)及び (b)それぞれに対して、以下を比較対照技術とする。 プレドニゾン±免疫抑制剤±アセチルコリンエステラーゼ阻害薬
--------	--

4. 追加的有用性の評価

製造販売業者はエフガルチギモドの追加的有用性の評価にあたって、基本分析においてシステマティックレビューを実施しなかった上に、費用対効果評価専門組織で決定された 2 つの分析対象集団ではなく全体集団を対象として追加的有用性の評価を行った。

製造販売業者は、Pivotal 試験である ADAPT 試験の結果を基に、エフガルチギモドは比較対照技術に比べて追加的有用性を有すると主張した。

公的分析は、費用対効果評価専門組織で決定された分析枠組みに従って、分析対象集団 (a)(b)のそれぞれに分けて、システマティックレビューにより特定された ADAPT 試験の結果を基に、Quantitative Myasthenia Gravis (QMG) レスポンド割合(QMG スコアが 3 ポイント以上改善した患者の割合と定義)と Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living (MG-ADL) レスポンド割合(MG-ADL スコアが 2 ポイント以上改善した患者の割合と定義)をアウトカムとして評価を行った。分析対象集団(a)抗アセチルコリン受容体抗体陽性の集団においては、初回サイクルの MG-ADL レスポンド割合はエフガルチギモド群がプラセボに対して統計学的に有意に高かった [エフガルチギモド群 44/65(68%)、プラセボ群 19/64(30%)、オッズ比 4.95(95%CI :2.21-11.53)]。また、初回サイクルの QMG レスポンド割合はエフガルチギモド群がプラセボ群に対して統計学的に有意に高かった [エフガルチギモド群 41/65(63%)、プラセボ群 9/64(14%)、オッズ比 10.84(95%CI 4.18-31.20)]。

これらの結果より、公的分析は分析対象集団(a)についてエフガルチギモドは比較対照技術に対して追加的有用性を有すると判断した。

分析対象集団(b)抗アセチルコリン受容体抗体陰性の集団においては、初回サイクルの MG-ADL レスポンド割合はエフガルチギモド群で 13/19(68.4%)、プラセボ群 12/19(63.2%)であった。また、初回サイクルの QMG レスポンド割合はエフガルチギモド群 10/19(53%)、プラセボ群で 7/19(36.8%)であった。

以上より、陰性集団のサンプル数は限られており、得られた結果が不確実性の大きなものであることなどから、現時点ではエフガルチギモドが比較対照技術に対して追加的有用性を有すると判断することは困難であると考えた。

5. 費用効果分析の結果

製造販売業者は、1 次治療の評価対象技術および比較対照技術、2 次治療の免疫グロブリン静注療法および血漿交換療法、および 3 次治療のエクリズマブ(分析対象集団(a)のみ)、および Best supportive care の状態からなるマルコフモデルを用いて費用効果分析を行った。

公的分析では、製造販売業者の分析にはエクリズマブを使用する患者割合、モデルにおける健康状態の定義づけ、エフガルチギモドの薬剤費用の設定、生産性損失を基本分析に含めてい

ること、および評価対象技術と比較対照技術の投与方法の違いによる関連医療費が含まれていないことについて課題があると考え、その点について修正する再分析を行った。

その結果、費用効果分析の結果は以下の通りとなった。

分析対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY)
(a) 抗アセチルコリン受容体抗体陽性の全身型重症筋無力症	プレドニゾン±免疫抑制剤 ±アセチルコリンエステラーゼ阻害薬	111,660,260
(b) 抗アセチルコリン受容体抗体陰性の全身型重症筋無力症	プレドニゾン±免疫抑制剤 ±アセチルコリンエステラーゼ阻害薬	費用増加