



2024年10月9日

[C2H2301] ロペグインターフェロン アルファ-2b(ベスレミ)

評価結果の概要

1. 効能・効果

真性多血症(既存治療が効果不十分又は不適當な場合に限る)

2. 薬価

2023年5月に薬価収載され、薬価は297,259円(250µg シリンジ)、565,154円(500µg シリンジ)ある(2024年9月時点)。原価計算方式に基づき算定された。費用対効果評価対象(H1)品目指定。

3. 費用対効果評価の分析枠組み

本製品は真性多血症に対して使用される。費用対効果評価専門組織(i)では、ロペグインターフェロン アルファ-2b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	以下の真性多血症患者をそれぞれ分析対象集団とする。 (a) 細胞減少療法を必要とする患者で既存の細胞減少療法の治療歴がない患者 (b) ヒドロキシカルバミドが不耐容または抵抗性の患者
比較対照技術名	(a) ヒドロキシカルバミド (b) ルキシリチニブ

4. 追加的有用性の評価

【全身療法終了後、既存の生物学的製剤を使用していない患者】公的分析が実施したSRによって同定した臨床試験は、PROUD-PV及びCONTINUATION-PVの2件であった。CONTINUATION-PVは、試験デザインの変更があったPROUD-PVの後継試験であることや、事前の統計的仮説がないことなど課題が認められた。一方、「血液学的完全奏効を含めた複合ア

ウトカム」の Rate ratio(1.42 [95%CI, 1.01 to 2.00, p=0.044])、「血液学的完全奏効」の Rate ratio(1.38 [95%CI 1.07 to 1.79, p=0.012])、及び 12 か月時点における「分子遺伝学的奏効」の Rate ratio(2.31 [95%CI 1.56 to 3.42, p<0.0001])のいずれの評価項目においても比較対照である Best available therapy (BAT)に対して明らかな有用性を示していることから、公的分析ではロペグインターフェロン アルファ-2b はヒドロキシカルバミドに対し追加的有用性を有すると判断した。

【全身療法終了後、既存の生物学的製剤を使用していない患者】SR によって特定された臨床試験において、ロペグインターフェロン アルファ-2b と比較対照技術であるルキシリチニブのそれぞれの試験において、患者背景に無視できない異質性が認められ間接比較の実施は困難と考えられた。製造販売業者はルキシリチニブにおいてリスクが高いことが報告されている非メラノーマ性皮膚がん、帯状疱疹の発生がロペグインターフェロン α-2b の臨床試験においては報告されていなかったことから、ロペグインターフェロン α-2b はルキシリチニブに対して追加的有用性を有すると判断した。非メラノーマ性皮膚がん、帯状疱疹の発生については SR に基づかないものであることから、公的分析ではロペグインターフェロン アルファ-2b のルキシリチニブに対する追加的有用性は示されていないと判断した。

5. 費用効果分析の結果

製造販売業者は、真性多血症患者の健康状態を「分子遺伝学的奏効なし/血液学的奏効なし」、「分子遺伝学的奏効なし/血液学的奏効あり」、「分子遺伝学的奏効あり/血液学的奏効あり」及び「死亡」の 4 つの状態に区分したマルコフモデルを用いて、質調整生存年 (QALY) をアウトカムとするコホートシミュレーションを実施した。公的分析は、製造販売業者が分析で用いた QOL 値に関して、ロペグインターフェロン α-2b の治療効果が過大に見積もられている可能性を考慮し、CONTINUATION-PV において取得された EQ-5D-3L による QOL 値を用いることが適切であると判断し再分析を実施した。この他、比較対照技術の価格を最新のものに更新した上での結果は以下の通りとなった。

対象集団	比較対照技術	追加的有用性	ICER (円/QALY)
細胞減少療法を必要とする患者で既存の細胞減少療法の治療歴がない患者	ヒドロキシカルバミド	追加的有用性が示されている	844,272,896
ヒドロキシカルバミドが不耐容または抵抗性の患者	ルキシリチニブ	追加的有用性が示されていない	費用増加