

医薬品及び医療機器の費用対効果評価に係る分析結果の記載様式と手引
【第 2.0 版】

国立保健医療科学院
2024 年 4 月

C₂H

(表紙)

【製品名】に関する費用対効果評価【第 X 版】

【提出者名】

【提出日】(第 1.0 版の提出日【該当する場合のみ】)

- ・ 上記の製品名、提出者名、提出日を記載する。
- ・ バージョンについては、当初の提出については「1.0 版」とし、微修正等があった場合は、「1.1 版」「1.2 版」等として、修正箇所がわかるように履歴をつけて再提出する。
- ・ 大きな変更があった場合は、「2.0 版」「3.0 版」のように版の番号を増加させる。
- ・ バージョンが 1.0 から増加する場合は、第 1.0 版の提出日も記録しておく。

【目次】

| | |
|--|----|
| 0. 要旨 | 6 |
| 1. 対象となる医薬品・医療機器・再生医療等製品の性質 | 8 |
| 1.1 名称 | 8 |
| 1.2 保険償還価格 | 8 |
| 1.3 治療効果のメカニズム | 8 |
| 1.4 対象疾患 | 8 |
| 1.5 使用方法等 | 8 |
| 1.6 対象疾患の治療における当該医薬品・医療機器・再生医療等製品の位置づけ | 9 |
| 1.7 主な有害事象 | 9 |
| 1.8 諸外国の医療技術評価機関における評価結果 | 10 |
| 2. 費用効果分析における分析条件の設定 | 15 |
| 2.1 分析対象集団 | 15 |
| 2.2 比較対照技術 | 15 |
| 2.3 分析の立場と費用の範囲 | 15 |
| 2.4 効果指標 | 15 |
| 2.5 分析期間 | 15 |
| 2.6 割引率 | 16 |
| 2.7 分析条件の設定の要約 | 16 |
| 3. 追加的有用性 | 17 |
| 3.1 システマティックレビューのリサーチクエスチョン | 17 |
| 3.2 システマティックレビューの結果 | 18 |
| 3.3 システマティックレビューのリサーチクエスチョン(異なる比較対照あるいは単群試験) [該当する場合のみ] | 20 |
| 3.4 システマティックレビューの結果 (異なる比較対照あるいは単群試験) [該当する場合の み] | 20 |
| 3.5 既存データの再解析 | 20 |
| 3.6 メタアナリシスの詳細 [該当する場合のみ] | 20 |
| 3.7 間接比較やネットワークメタアナリシスの結果 [該当する場合のみ] | 21 |
| 3.8 追加的有用性の有無に関する評価 | 22 |
| 4. 分析方法の詳細 | 23 |
| 4.1 分析方法 | 23 |
| 4.1.1 費用対効果の算出方法 | 23 |
| 4.1.2 モデルで使用した仮定 | 24 |

| | | |
|-------|--------------------------------------|----|
| 4.1.3 | モデルで使用した健康状態の定義 | 25 |
| 4.2 | 分析で使用したパラメータ | 25 |
| 4.2.1 | 有効性・安全性等のパラメータの詳細 | 25 |
| 4.2.2 | QOL 値の詳細 | 26 |
| 4.2.3 | 費用のパラメータの詳細 | 27 |
| 5. | 分析結果 | 28 |
| 5.1 | 基本分析(費用対効果評価専門組織で決定された分析枠組みによる分析)の結果 | 28 |
| 5.1.1 | 基本分析の増分費用、増分効果、増分費用効果比 | 28 |
| 5.1.2 | 感度分析 | 29 |
| 5.1.3 | 分析の妥当性の検討 | 29 |
| 5.1.4 | 分析結果の解釈 | 29 |
| 5.1.5 | 価格調整率の重み [該当する場合のみ] | 30 |
| 5.1.6 | 価格の引き上げ [該当する場合のみ] | 31 |
| 5.2 | 公的介護費や生産性損失を含めた分析 [該当する場合のみ] | 31 |
| 5.3 | その他の分析 [該当する場合のみ] | 31 |
| 6. | 再分析用のデータ | 32 |
| 7. | 実施体制 | 33 |
| 8. | 参考文献 | 34 |

【記入にあたっての基本的な注意事項】

- ・ 「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第4版(以下、分析ガイドライン)」及び費用対効果評価専門組織で決定された分析枠組みに基づき対象品目を分析すること。
- ・ 公的分析報告書とそれを元にした「公的刊行物」における開示範囲や著作権等についての考え方は「公的分析報告書の不開示範囲について」(URL: <http://>)に示されているので、左記を参照した上で報告を行うこと。
- ・ 分析ガイドラインで説明することが求められる事項について、該当する場合は第三者が内容を把握できるように十分な記述をすること。
- ・ 記載にあたっては、表紙部分から(本様式の1ページ目は削除)用い、説明や手引き部分(斜体部分)は削除して使用すること。目次は最後に更新すること。
- ・ 当該品目にかかる分析には該当しない章やセクションがあっても、章やセクション自体を削除せずに、「該当なし」等と記載しておくこと。
- ・ 用紙サイズはA4版、フォント(10.5pt、日本語用: MS P ゴシック、英数字: Verdana)やページの行数などの設定は変更しないこと。
- ・ 英数字記号(句読点等は除く)は原則として半角文字を用いること。
- ・ ページ中に余白があっても各章(1~8章)の最終段落後には改ページを挿入し、次章はページの冒頭から開始すること。
- ・ 文献等の引用時には、引用箇所に[1][2]…等の文献番号を挿入すること。
- ・ 引用文献は、ICMJE(医学雑誌編集者国際委員会: International Committee of Medical Journal Editors)の推奨するいわゆる「バンクーバー方式」を用いること。バンクーバー方式については以下を参照。
https://www.nlm.nih.gov/bsd/uniform_requirements.html
- ・ 図表を使用する場合は、本文中の該当箇所に図表番号(表1、図3など)を挿入することを原則とする。図表は巻末にまとめるのではなく、原則として引用箇所と同一ページ(難しい場合はその直後のページ)に図表番号とタイトルをつけた上で、適当な位置に挿入すること。
- ・ 参考となる表の形式を示している場合は、それらを(あるいは適宜修正して)使用して記載することが望ましい。
- ・ 費用対効果評価専門組織からの指示に基づいて実施する箇所については、理由等の記載が求められている際に「費用対効果評価専門組織からの指示に基づいて実施する」とする。
- ・ 費用対効果評価専門組織で指示された以外の分析の詳細について、原則として2~4章に該当する報告部分は、巻末に別添として示すこと。分析の結果とその結果に至った概要のみ5.3節に記載する。
- ・ 提出時には本ページは削除する。

0. 要旨

- 対象となる医薬品・医療機器・再生医療等製品について、分析結果等の要旨をまとめ、下表に沿って記載する。

| | |
|-------------------------------------|--|
| 評価対象技術名 [1.1 節] | |
| 諸外国の医療技術評価機関における評価結果 [1.8 節] | |
| 分析対象集団 [2.1 節] | |
| 比較対照技術名 [2.2 節] | |
| 分析の立場と費用の範囲 [2.3 節] | |
| 効果指標 [2.4 節] | |
| 分析期間 [2.5 節] | |
| 割引率 [2.6 節] | |
| システマティックレビューのリサーチクエスチョン [3.1/3.3 節] | |
| システマティックレビュー結果の概要 [3.2/3.4 節] | |
| 間接比較の結果 [3.7 節] | |
| 追加的有用性の有無 [3.8 節] | <input type="checkbox"/> 追加的有用性あり <input type="checkbox"/> 「追加的有用性なし」あるいは「あるとは判断できない」 <input type="checkbox"/> 「効果が劣る」あるいは「同等とはみなせない」 <input type="checkbox"/> その他() |
| 費用対効果の分析方法の概要 [4.1.2 項、4.2 節等] | |
| 結果の概要 [5.1 節] | |
| ICER の所属する確率が最も高いと考える区間 | <input type="checkbox"/> ドミナント <input type="checkbox"/> 効果が同等、かつ費用が削減 <input type="checkbox"/> 効果が同等、かつ費用が同等 <input type="checkbox"/> 200 万円/QALY 未満 |

| | |
|--|--|
| | <ul style="list-style-type: none"><input type="checkbox"/> 200 万円/QALY 以上 500 万円/QALY 未満 (200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満)<input type="checkbox"/> 500 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満 (750 万円/QALY 以上 1,125 万円/QALY 未満)<input type="checkbox"/> 750 万円/QALY 以上 1,000 万円/QALY 未満 (1,125 万円/QALY 以上 1,500 万円/QALY 未満)<input type="checkbox"/> 1,000 万円/QALY 以上 (1,500 万円/QALY 以上)<input type="checkbox"/> 効果が同等(あるいは劣り)、かつ費用が増加<input type="checkbox"/> その他() |
|--|--|

1. 対象となる医薬品・医療機器・再生医療等製品の性質

(以下、知的所有権の関係から、分析過程において公表することが困難と考えられるデータを使用している場合は、公開することが困難な部分について、色つきマーカー等で示すこと)

1.1 名称

- ・ 【医薬品】販売名、一般名について記載する。
- ・ 【医療機器】販売名、一般的名称について記載する。
- ・ 【再生医療等製品】販売名、一般的名称について記載する。

1.2 保険償還価格

- ・ 現時点の保険償還価格を記載する。算定方式、加算率及び該当する機能区分(医療機器に限る。)等の情報も含める。

1.3 治療効果のメカニズム

- ・ 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品から治療効果が得られるメカニズムについて記載する。

1.4 対象疾患

- ・ 保険適用となる疾患をすべて記載する。
- ・ 品目の指定から分析枠組みの決定までの間に適応症が追加される場合は、それらについても記載する。
- ・ 分析対象とする疾患の疫学的性質(有病率、新規発症者数、好発年齢等)を記載する。
- ・ 分析対象とする疾患における当該医薬品・医療機器・再生医療等製品の使用(見込)者数を記載する。
- ・ 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品を使用する患者の主な年齢(層)や性別等を記載する。

1.5 使用方法等

【医薬品・再生医療等製品】

- ・ 投与経路、投与方法、投与量、投与(使用)頻度、治療期間等、使用方法について記載する。

実際に使用された平均的な投与頻度、治療期間等がわかっている場合はそれらも含める。

- ・ 投与あるいはフォローアップ時に必要な検査や処置、医薬品等があれば、その内容(検査等の名称、頻度など)を記載する。

【医療機器】

- ・ 使用量、耐用年数(再手術までの平均期間等)や製品構成、メンテナンスなどについて記載する。実際に使用された使用量や耐用年数等がわかっている場合はそれらも含める。
- ・ 使用あるいはフォローアップ時に必要な検査や処置、医薬品等があれば、その内容(検査等の名称、頻度など)を記載する。

| | | |
|---------------------|--|-------------|
| | | (例) |
| 投与経路 | | 経口 |
| 投与方法 | | 医薬品 A と併用する |
| 投与量 | | 10mg~20mg |
| 投与頻度 | | 毎日 |
| 平均的な投与期間(あるいはサイクル数) | | 約半年 |
| 平均投与量 | | 15mg/day |

(医療機器の場合は、上記にあてはまらない場合もあるため、その場合は、製品特性に応じた使用方法等を記載すること)

1.6 対象疾患の治療における当該医薬品・医療機器・再生医療等製品の位置づけ

- ・ 対象疾患に対する標準的な治療法あるいは治療フローを示し、当該医薬品・医療機器・再生医療等製品がその中でどのような位置を占めるかについて記載する。
- ・ 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品が既存治療と比較してどのような改善・改良がなされているか記載する。また、その結果どのような臨床的効果が期待されるか概要を記載する。

1.7 主な有害事象

- ・ 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品に関連する主な有害事象(特に当該品目に特有なもの)と、その有害事象が発現した際の治療方法について示す。

1.8 諸外国の医療技術評価機関における評価結果

- ・ 英・独・仏等、他国の医療技術評価機関における評価結果について、既に存在する場合はここに記載する。
- ・ 概要は下表にまとめて記載する。
- ・ 少なくとも以下の医療技術評価機関の評価結果について、その有無を含めて記載する。
 - ・ NICE(イギリス-イングランド/ウェールズ): Technology appraisal、(医療機器のみ) Medical technologies guidance
 - ・ SMC (イギリス/スコットランド): SMC advice
 - ・ HAS (フランス): SMR・ASMR、効率性評価
 - ・ IQWiG (ドイツ): (医薬品のみ) AMNOG における追加的有効性の評価
 - ・ CADTH (カナダ): (医薬品のみ) Common Drug Review あるいは pan-Canadian Oncology Drug Review、(医療機器のみ) その他のCADTH のレポート
 - ・ Health Quality Ontario (カナダ/オンタリオ州): 医療機器のみ
 - ・ PBAC (オーストラリア): 医薬品のみ
 - ・ MSAC (オーストラリア): 医療機器のみ
 - ・ ICER (米国)
- ・ その他の機関における評価結果の記載は任意。
- ・ 記載内容
 - ・ 評価あるいは意思決定の主要な結果 (償還の可否、評価カテゴリーなど)。
 - ・ リスト価格(用量等が異なるものしか販売されてない場合は、その価格とその旨を記載する)
なお、償還の可否について条件がついている場合、それらについても報告すること(価格を引き下げた上で償還を推奨するなど)。使用や価格引き下げ条件、価格交渉の結果等については公表されていないものについても、その内容等について報告に含めることが望ましい。
- ・ 医療経済評価が報告されている場合には以下を記載に含める。同一の医療技術に対する評価が複数ある場合は、最新のを記載する。
 - ・ 評価結果を記載したWEB ページのURL
 - ・ 評価対象疾患
 - ・ 使用方法
 - ・ 比較対照技術
 - ・ 主要な増分費用効果比の結果: 再分析の結果等から医療技術評価機関側がベースケースとみなしている値について記載する。該当する場合は「XXXXX ポンド以下」等の表現も可。

なお、最終結果が報告されていなくても評価ドラフト案(NICE のFAD 等)が出されている場合は、それについて記載する。また、具体的な数値について黒塗り等の処置がなされている場合も可能な限りで報告に含めることが望ましい。

【主要国における評価の一覧表】

・ 医薬品

| 国名 | 機関名 | 評価結果（記載例） | リスト価格 (現地通貨建) |
|---------|-------|---|------------------|
| イギリス | NICE | ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他 () ・ 評価ステータス: 最終ガイダンス/ドラフト/その他() | |
| | SMC | ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他 () | |
| フランス | HAS | ・ SMR: Important/Moderate/Mild/Insufficient ・ ASMR: I/II/III/IV/V ・ 効率性評価: あり(主な ICER の値:)/評価中/未実施 | |
| ドイツ | IQWiG | ・ Major/Considerable/Minor/Unquantifiable/No additional benefit | |
| カナダ | CADTH | ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他 () | |
| オーストラリア | PBAC | ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他 () | |
| 米国 | ICER | ・ 主な ICER の値など() | |

・ 医療機器

| 国名 | 機関名 | 評価結果（記載例） | リスト価格 (現地通貨建) |
|---------|-------------------------------------|---|------------------|
| イギリス | NICE | <ul style="list-style-type: none"> ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他 () ・ 評価ステータス: 最終ガイダンス/ドラフト/その他 () | |
| フランス | HAS | <ul style="list-style-type: none"> ・ SA:十分/不十分/評価無し ・ ASA:I/II/III/IV/V/評価無し ・ 効率性評価: あり(主な ICER の値:)/評価中/未実施 | |
| カナダ | CADTH/ Health Quality Ontario | <ul style="list-style-type: none"> ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他() | |
| オーストラリア | MSAC | <ul style="list-style-type: none"> ・ 推奨/非推奨/条件つき推奨(具体的に:)/その他() | |

【各国における費用対効果評価の詳細】

1. 評価の有無の一覧

(医薬品)

| 国名 | 機関名 | 評価結果の有無 |
|---------|-------|---------------------------|
| イギリス | NICE | あり/ なし/ 評価中(ドラフトあり/なし)/不明 |
| | SMC | あり/ なし/ 評価中/不明 |
| フランス | HAS | あり/ なし/ 評価中/不明 |
| カナダ | CADTH | あり/ なし/ 評価中/不明 |
| オーストラリア | PBAC | あり/ なし/ 評価中/不明 |
| 米国 | ICER | あり/ なし/ 評価中/不明 |

(医療機器)

| 国名 | 機関名 | 評価結果の有無 |
|---------|----------------------------------|---------------------------|
| イギリス | NICE | あり/ なし/ 評価中(ドラフトあり/なし)/不明 |
| カナダ | CADTH/ Health Quality Ontario | あり/ なし/ 評価中/不明 |
| オーストラリア | MSAC | あり/ なし/ 評価中/不明 |

2. 評価結果の詳細

(記載例)

| | |
|--------------------|---|
| 国名 | イギリス |
| 機関名 | NICE |
| 評価結果の URL など | https://www.nice.org.uk/guidance/taxxx |
| 評価対象技術 | 医薬品 A |
| 評価結果 | 条件つき推奨 |
| 条件つき推奨の場合は、その条件の詳細 | Patient Access Scheme に基づき価格を XX%だけ値引く。 |
| 評価対象疾患 | 疾患 Z |
| 使用方法 (※) | 8mg/kg を 2 週に 1 回投与する |
| 比較対照 | 医薬品 B |
| 主要な増分費用効果比の値 | 約 48,000 ポンド/QALY (PAS 適応後) |

(※) 医療機器など当てはまらない場合は記載不要。

2. 費用効果分析における分析条件の設定

(以下、知的所有権の関係から、分析過程において公表することが困難と考えられるデータを使用している場合は、公開することが困難な部分について、色つきマーカー等で示すこと)

2.1 分析対象集団

- ・ 費用対効果評価専門組織で決定された分析対象集団について記載する。
- ・ 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品に複数の適応がある場合、あるいは同一疾患内においても治療成績や使用方法・用法用量、比較対照技術が異なる主要な集団がある場合、それら複数の分析対象集団について、定義等を含めて記載する。
(サブグループ分析とは、専門組織で決定された分析枠組みに基づく基本分析において分析対象となった各集団の一部集団について分析する場合を指すこととする。)

2.2 比較対照技術

- ・ 費用対効果評価専門組織で決定された比較対照技術とそれを選定した理由を記載する。
- ・ 比較対照技術の使用方法についても可能な範囲で1.5節と同様に記載する。
- ・ 複数の比較対照技術がある場合はそれぞれについて記載する。

2.3 分析の立場と費用の範囲

- ・ 分析の立場と費用の範囲を記載する。
- ・ 「公的医療の立場」以外の立場から分析を実施する場合でも、「公的医療の立場」の分析を実施する。
- ・ 公的介護費・生産性損失を費用の範囲に加えた分析を提出する場合は、その旨を示す。

2.4 効果指標

- ・ 選択した効果指標とそれを選択した理由を記載する。
- ・ QALY を使用しない場合は、分析前協議において適切な効果指標について検討することを原則とする。その場合、算出された結果をどのように解釈するのか記載する。

2.5 分析期間

- ・ 分析期間を記載する。

- ・ 分析期間が生涯より短い場合は、設定した分析期間で十分とした理由を記載する。

2.6 割引率

- ・ 費用及び効果について、使用した割引率を記載する。
- ・ 年率2%を用いない場合は、その理由を示す。
- ・ 短期間における分析である等のため割引を行わない場合は、そのことを明らかにした上で、割引を行わなかった理由を記載する。

2.7 分析条件の設定の要約

- ・ 下表にしたがい、分析を実施する集団ごとに2.1 節から2.6 節までの内容をまとめる。

| | | (例) |
|---------------|--|------------------------------|
| 分析対象集団 | | 疾患 A をもち、標準療法(治療 B)が無効であった患者 |
| 比較対照技術 | | 無治療 |
| 比較対照技術を選定した理由 | | |
| 分析の立場と費用の範囲 | | 公的医療の立場 公的医療費のみ |
| 効果指標 | | QALY、生存年 |
| 分析期間 | | 生涯 |
| 割引率 | | 費用・効果ともに年率 2% |

3. 追加的有用性

(以下、知的所有権の関係から、分析過程において公表することが困難と考えられるデータを使用している場合は、公開することが困難な部分について、色つきマーカー等で示すこと)

- ・ 2.2 節で定めた比較対照技術に対する RCT のシステマティックレビュー(Systematic review: SR)を実施し、追加的有用性の有無について記載する。

3.1 システマティックレビューのリサーチクエスチョン

- ・ 分析ガイドライン 5 章「追加的有用性」を参照すること。
- ・ SR を実施する際には、リサーチクエスチョン(Research question: RQ)を明確に提示する。例えば、PICO(P: 患者(Patient), I: 介入(Intervention), C: 比較対照(Comparator): O: アウトカム(Outcome))などの形式で構造化された RQ を定義し、別添の表に埋める。
- ・ 評価対象技術あるいは 2.2 節で定めた比較対照技術とアウトカムが同等であると考えられる同一作用機序あるいは同一機能区分等の類似技術について、それらを SR における介入(I)あるいは比較対照(C)に含めてもよい。その場合は、含める類似技術名などその詳細を記載する。
- ・ アウトカム(O)指標は、臨床的な有効性・安全性・健康関連 QOL の観点のうち、評価対象技術の特性を評価する上で、適切なもの(真のアウトカム指標など)であることを説明する。
- ・ 原則として、アウトカム(O)指標は一つに定めるものとするが、複数のアウトカム(O)指標を用いる場合は、それらが相互に矛盾する結果となった場合、どのように解釈をするのか記載する。
- ・ SR における文献検索期間について明記する。なお、文献検索終了時点は、分析枠組みが決定された後から製造販売業者による分析提出までの一時点に決める。

・ システマティックレビューのリサーチクエスチョン

| | (例) |
|--------|----------------------------|
| 患者 | 疾患 A で治療 B が無効になった患者 |
| 介入 | 医薬品 C |
| 比較対照 | 無治療 (プラセボ等) |
| アウトカム | 生存期間 |
| 研究デザイン | RCT |
| 文献検索期間 | 2015 年 1 月から 2018 年 10 月まで |

3.2 システマティックレビューの結果

- ・ 分析ガイドライン 5 章「追加的有用性」を参照すること。
- ・ PRISMA(Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses) 声明(<http://www.prisma-statement.org/>) の原則に従い、下記の内容については明確に示す。
 - ・ 臨床研究の組み入れ基準や除外基準
 - ・ 使用したデータベース
 - ・ 使用した検索式
- ・ ハンドサーチ等により未公表データを収集した場合は、そのことを上記のフローチャートに含める。承認申請に用いたデータは未公表のものでも含めることを推奨する。
- ・ 最終的に評価に組み入れる対象となった臨床研究(SR で特定したものやネットワークメタアナリシスに組み込んだものなど)については、別添のような一覧表及び詳細表の形式で記載する。
- ・ その他、下記の情報を記載する(論文の数が多い場合はピボタルなもののみ限定してもよい)。
 - ・ CONSORT 声明の推奨するフローチャート (<https://www.equator-network.org/reporting-guidelines/consort/>)
 - ・ 被験者のベースライン時の人口統計学的性質、 Kaplan-Meier 曲線あるいは臨床検査値等の経時的変化、有害事象の詳細など試験を解釈する上で重要な情報
- ・ 信頼できる既存の SR が存在する場合、それらを活用することは可能であるか、RQ に合致するか、最新の文献まで含まれているか等を検討した上で、そのまま使用するあるいは追加的 SR を実施して研究を追加する等の検討を行う。研究を追加する場合は、上記の一般の SR 同様の内容を報告する。
- ・ SR で同定され、追加的有用性の評価に採用する論文は risk of bias の評価を行うことが望ましい。
- ・ SR の結果、適切なものが存在しない場合、上記のプロセスに基づき、アウトカムを比較した非 RCT(観察研究等)の SR を実施し、追加的有用性を評価する。
- ・ アウトカムを比較した非 RCT(観察研究等)のデータを含める場合は、その理由を記載する(該当する RCT が存在しないなど)。その場合、状況等に応じるが RCT の SR とは別に結果等を記載することを基本とする。
- ・ 非 RCT(観察研究等)のデータを含める場合は、研究の質(研究デザイン、群間での患者背景の差異、統計解析手法、患者数や施設数等)について十分に説明する。
- ・ レセプトやレジストリーなど既存の大規模なデータベース(リアルワールドデータ)を用いた研

究については、研究の質にばらつきあることから、データベースの性質、国内外における医療環境の差異、変数やイベントの定義、その妥当性やバリデーションの有無、解析手法、日本への結果の外挿可能性等について十分に説明する。

・ 同定した臨床研究(論文)の一覧表

| 臨床試験名 | 介入 (N=) | 比較対照 (N=) | 主要評価項目とその結果 | Reference |
|-------|------------|--------------|-------------|-----------|
| | (N=) | (N=) | | |
| | | | | |
| | | | | |

・ システマティックレビューに組み込んだ臨床研究(論文)の詳細表

| 【試験 1】 | | (例) |
|------------|--|--------------------------------------|
| 試験を実施した場所 | | 日本、米国等 5 カ国 |
| 参加者の募集期間 | | 2001 年 4 月から 2002 年 12 月 |
| 対象集団 | | 疾患 A を持つ 40 歳以上の患者 |
| 主な除外基準 | | 治療 B を受けている患者 |
| 介入方法の詳細 | | 医薬品 C 10mg を 1 日 2 回、16 週間にわたって投与する。 |
| 比較対照の詳細 | | プラセボ |
| 試験デザイン | | RCT。遺伝子型 D を層別因子として割り付け。 |
| 盲検化法 | | 二重盲検法 |
| 主要評価項目 | | 40 週時点での臨床検査値 E |
| 主な副次評価項目 | | HRQOL、有害作用等 |
| 統計解析手法 | | ベースライン値を補正した共分散分析 |
| サンプルサイズ | | 医薬品 C 群: n=450、プラセボ群: n=442 |
| フォローアップ期間 | | 平均 43 週 |
| 対象者の主な背景要因 | | 年齢: 平均 55 歳、性別: 男性 70%... |

| | | |
|-------------|--|---|
| 主要評価項目の結果 | | 臨床検査値 E の群間差は-18 [95% CI: -24, -12] |
| 主な副次評価項目の結果 | | HRQOL 値の群間差は 3 [95% CI: -5, 12]。主な有害事象は有意差なし。 |
| 試験の限界 | | <ul style="list-style-type: none"> ・ 比較的軽度の患者のみ含まれている。 ・ 臨床検査値では差があるが、HRQOL では有意差がない。 |

3.3 システマティックレビューのリサーチクエスチョン(異なる比較対照あるいは単群試験) [該当する場合のみ]

- ・ 3.2 節で実施した SR において該当する比較試験の論文が存在しないことが確認された場合は、2.2 節で定義した比較対照以外あるいは単群試験等に RQ を変更したものを 3.1 節と同じく提示する。

3.4 システマティックレビューの結果 (異なる比較対照あるいは単群試験) [該当する場合のみ]

- ・ 3.3 節で定義された RQ に基づき、3.2 節と同様に SR を実施する。

3.5 既存データの再解析 [該当する場合のみ]

- ・ 3.2 節あるいは 3.4 節に既存の RCT、観察研究やレジストリーデータなどを再解析した結果を含める場合は、その結果のみならず、研究デザイン、群間での患者背景の差異、統計解析手法、患者数や施設数、その他群間の比較可能性を検討するために有用なデータ等について詳細を記載する。

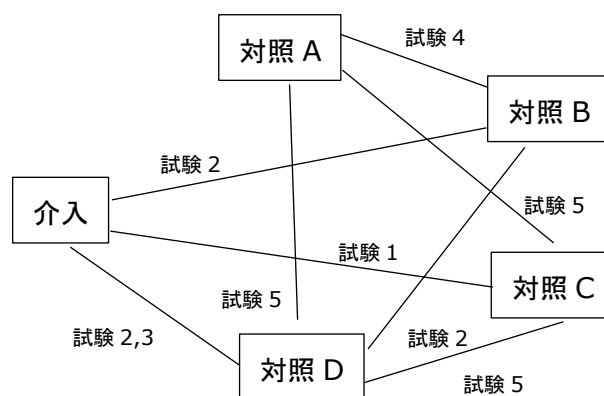
3.6 メタアナリシスの詳細 [該当する場合のみ]

- ・ 実施することが適切な場合は、対比較のメタアナリシスを用いて各試験を統合した結果を提示する。その場合は、少なくとも以下の事項については記載する。
 - ・ 各臨床研究の結果における異質性の評価
 - ・ 結果を統合する統計的手法(固定効果モデル、変量効果モデル、ベイズモデル等)
 - ・ 個々の試験結果と統合した結果を示すフォレストプロット
 - ・ 出版バイアスを検討するためのファンネルプロット

3.7 間接比較やネットワークメタアナリシスの結果 [該当する場合のみ]

- ・ 分析ガイドライン5章「追加的有用性」を参照すること。
- ・ 間接比較を行う場合は、やむを得ない場合を除き、複数の臨床研究から各群の臨床成績を取り出し比較する方法は避ける。そのような手法を用いざるを得ない場合は、その理由を記載する。
- ・ 直接比較の試験については以下の図表の形式でまとめて記載する。
- ・ 間接比較を実施した場合は、間接比較を可能とする仮定や前提条件(疾患、重症度、患者背景等の異質性や試験の同質性など)についても提示し、想定されるバイアスについての考察を示す。

| 試験名 | 介入 | 対照 A | 対照 B | 対照 C | 対照 D |
|------|----|------|------|------|------|
| 試験 1 | ○ | | | ○ | |
| 試験 2 | ○ | | ○ | | ○ |
| 試験 3 | ○ | | | | ○ |
| 試験 4 | | ○ | ○ | | |
| 試験 5 | | ○ | | ○ | ○ |



- ・ ネットワークメタアナリシスを実施した場合、以下の点についても留意し、設定した理由を十分に説明し、必要に応じて感度分析を実施する。結果はフォレストプロット等もあわせて示す。
 - ・ ネットワークの広さ(治療群の数)
 - ・ 各群の設定(薬効群等でまとめるか個別製品ごとに設定するか)
 - ・ 投与量や投与方法の違う介入の取り扱い
 - ・ 日本における未承認薬等の取り扱い
- ・ ネットワークメタアナリシスを実施した場合、第三者が再現可能なデータと解析プログラムを可能な限り提出する。

3.8 追加的有用性の有無に関する評価

- ・ 下表を用いて、対象集団ごとに、追加的有用性の有無についての評価を記載する。追加的有用性があると判断する場合は、SR のデータ等を元にその理由について記載する。
- ・ 特に、比較試験に基づかずに、追加的有用性があると判断する場合は、結果の比較可能性等について詳細に記載し、説明する。

| | |
|------------------|--|
| 対象集団 | |
| 介入 | |
| 比較対照 | |
| アウトカム | |
| 追加的有用性の有無 | <input type="checkbox"/> 追加的有用性あり <input type="checkbox"/> 「追加的有用性なし」あるいは「ありとは判断できない」 <input type="checkbox"/> 「効果が劣る」あるいは「同等とはみなせない」 <input type="checkbox"/> その他() |
| 判断の根拠となったデータ | <input type="checkbox"/> RCT のメタアナリシス <input type="checkbox"/> 単一の RCT <input type="checkbox"/> 前向きと比較観察研究 <input type="checkbox"/> RCT の間接比較 <input type="checkbox"/> 単群試験の比較 <input type="checkbox"/> その他() |
| 追加的有用性の有無を判断した理由 | |

4. 分析方法の詳細

4.1 分析方法

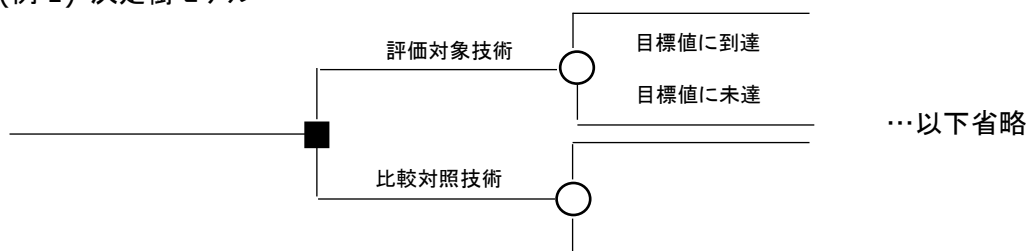
4.1.1 想定する当該疾患の治療プロセス

- ・ 分析を実施する際に用いている当該疾患の治療プロセス(例えば一次治療、二次治療など)について説明する。

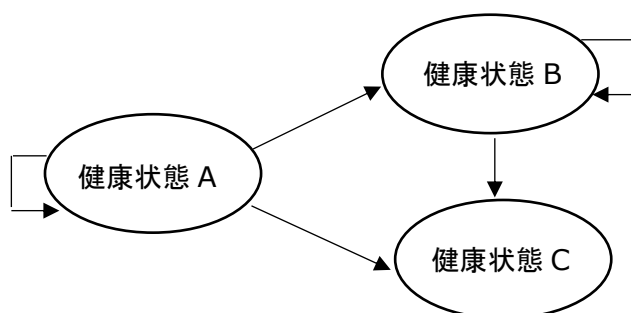
4.1.2 費用対効果の算出方法

- ・ 費用対効果をどのように算出したかその方法について記載する。
- ・ 分析ガイドライン 13 章「モデル分析」を参照すること。
- ・ モデル分析(決定樹モデル、マルコフモデル等)を行う場合は、その構造を下記のように図示する。
- ・ モデル分析を行う際には、そのモデルの妥当性について記載すること。

(例 1) 決定樹モデル



(例 2) マルコフモデル(健康状態と状態間の推移を図示する)



- ・ モデルを構築する際に使用した仮定、各健康状態の定義等については明確に記述する。
- ・ モデルを構築する際に使用したパラメータとそのデータソースについてはすべて提示する。

- ・ マルコフモデルを用いて解析する場合、マルコフサイクルの長さについて記載する。
- ・ 1 サイクルあたりの期間が長く、結果に影響を与える場合は、半サイクル補正を実施する。実施した場合はその旨を記載する。
- ・ 臨床試験に基づいて経済評価を実施する場合は、費用や効果を推計する統計解析手法等について示す。
- ・ 個票データに基づく生存曲線を用いて効果等を推計する場合は、生存曲線の形状や(パラメトリックな曲線を用いる場合は)ノンパラメトリックな生存曲線へのあてはまり等を図示する。また、パラメトリックな曲線を用いる場合は、当該曲線を用いる根拠についても記載する。
- ・ 生存曲線から効果等を推計している場合は、パラメトリック法を用いている場合でも、ノンパラメトリック法で推定された経時的な生存率(あるいはイベント発生率等)等を下表の形式で示す。
- ・ パラメトリックな曲線を用いて生存曲線を推定している場合は、その形状を特定することのできる式もあわせて提示する。

| 時点(週) | 生存率 | at risk 数 | イベント数 | 打ちきり数 |
|-------|-----|-----------|-------|-------|
|-------|-----|-----------|-------|-------|

(例)

| 時点(週) | 生存率 | at risk 数 | イベント数 | 打ちきり数 |
|-------|------|-----------|-------|-------|
| 0 | 1 | 100 | | |
| 1.5 | 0.99 | 99 | 1 | |
| 1.8 | 0.99 | 98 | | 1 |
| | | ... | | |
| 52 | 0.34 | 10 | | 1 |

4.1.3 モデルで使用した仮定

- ・ 構築したモデルや費用対効果算出のための分析において使用した仮定を全て記載する。

4.1.4 モデルで使用した健康状態の定義

- ・ 構築したモデルや費用対効果算出のための分析において使用した健康状態の定義を全て記載する。

4.2 分析で使用したパラメータ

- ・ 分析で使用したパラメータ(マルコフモデルにおける推移確率等を含む)を下表にまとめて記載する。

| 変数名 | 値 | (該当する場合) 95% CI | 分布[該当する場合] | 設定根拠 |
|-----------------------|-----------|-----------------|-----------------------------|------|
| (例) 年齢 | 57 歳 | - | - | |
| (例) 全生存期間 | 25 ヶ月 | - | ワイブル (scale, shape) | |
| (例) 評価対象技術の有効性(ハザード比) | 0.65 | 0.54-0.76 | 対数正規 (μ, σ^2) | |
| (例) 健康状態 A の QOL 値 | 0.71 | 0.62-0.77 | 正規 (μ, σ^2) | |
| (例) 評価対象技術の一月あたり費用 | 100,000 円 | - | 対数正規 (μ, σ^2) | |

4.2.1 有効性・安全性等のパラメータの詳細

- ・ 分析で使用した有用性や安全性等に関するパラメータ(QOL 値・費用を除く)を記載する。
- ・ 分析ガイドライン 9 章「データソース(費用を除く)」を参照すること。
- ・ 費用対効果におけるアウトカムや費用の推計を行う際には、想定する当該疾患の治療プロセスについてその根拠とともに示す。
- ・ パラメータを設定するために SR を行った場合は、その詳細を記載する。複数の該当するデータソースがある場合は、なぜそれをどのように用いたのか、なぜその値を用いたのか説明する。
- ・ モデルに入力するパラメータについて群間差を設定する場合は、追加的有効性や安全性を

有すると考えたその根拠について記載する。

- ・ 統計学的な検出力が不足している状況下で、両群で同じ値を用いない場合は、支持するその他のデータや理由、治療効果の大きさ(臨床的に意味のあるものか)などについてあわせて検討を行い、それが妥当であること妥当性を説明する。
- ・ 臨床研究等からパラメータを算出した場合、その算出根拠、計算方法等について詳細に記載する。
- ・ 医療機器等の評価において、科学的に信頼できる定量的なデータがある場合は、上記のデータに基づく分析とは別に、いわゆる習熟効果(経験の蓄積による治療効果等の改善)や製品改良による効果を反映した分析を基本分析とあわせて提出してもよい。

4.2.2 QOL 値の詳細

- ・ 分析で使用した QOL 値について記載する。
- ・ 分析ガイドライン 8 章「効果指標の選択」を参照すること。
- ・ 使用する QOL 値について、測定の対象とした集団、使用した QOL 尺度等を記載する。
- ・ 提出者が行った調査等に基づいて QOL 値を設定する場合は、その調査の詳細を記載する。
- ・ 家族や介護者等による代理の回答を用いた場合は、その旨を記載する。
- ・ 健康関連 QOL(Health-related quality of life: HRQOL) データから QOL 値へマッピングする場合は、換算を行った方法やその妥当性について記載する。
- ・ ビニエツト法により測定した結果を活用する場合は、評価に使用した実際のシナリオを提示すること。
- ・ パラメータを設定するために SR を行った場合は、その詳細を記載する。複数の該当するデータソースがある場合は、なぜそれをどのように用いたのか、なぜその値を用いたのか説明する。
- ・ モデルに入力するパラメータについて群間差を設定する場合は、追加的有用性を有すると考えたその根拠について記載する。

| 変数名 | 測定国 | 測定した集団の詳細 | 使用した尺度 | 測定者数 | reference |
|-------------------|-----|----------------------------------|----------|------|-----------|
| (例)健康状態 A の QOL 値 | 日本 | 疾患 A を持つ集団で、治療等には制限なし。平均年齢 60 歳。 | EQ-5D-5L | n=60 | [12] |

4.2.3 費用のパラメータの詳細

- ・ 分析で使用した費用について記載する。
- ・ 分析ガイドライン 10 章「費用の算出」を参照すること。
- ・ レセプトデータベースを用いて費用を推計する場合は、その推計方法の詳細、例えば
 - ・ 断面(横断)データか縦断データか
 - ・ 収集期間/診療年月
 - ・ 対象とした医療機関/保険者
 - ・ 健康状態の定義
 - ・ 現時点への単価の調整方法(特に評価対象技術と比較対照技術)
 - ・ 費用を推計する際の統計解析手法(特に外れ値や非関連医療費への対応)等について示す。
- ・ 費用を積み上げで推計する場合は、「単価」と「数量」を下表に埋めて示す。
- ・ 「単価」は可能な限り最新時点における診療報酬点数表、薬価基準、特定保険医療材料価格等を用いる。特に評価対象技術あるいは比較対照技術については必ず最新時点の価格を用いなければならない。

【治療 A の費用】

| 項目名 | 単価 | 数量 | 小計 |
|---------------------------------|-------|----|-------|
| (例) D007 血液化学検査 5. LDL-コレステロール | 180 | 1 | 180 |
| (例) D026 検体検査判断料 3 生化学的検査(I)判断料 | 1,440 | 1 | 1,440 |
| | | 総計 | 9,690 |

- ・ 既存の疾病費用研究を用いた場合は、その研究の詳細について示す。
- ・ 生産性損失や公的介護費等も上記と同様にその算定根拠の詳細を記載する。

5. 分析結果

5.1 基本分析(費用対効果評価専門組織で決定された分析枠組みによる分析)の結果

- ・ 増分費用効果比を算出する費用効果分析を実施するのか、効果は同等として費用を比較するいわゆる費用最小化分析を実施するのか、下表に明記する。
- ・ 評価対象技術が比較対照技術と比べて劣ると判断される場合は、費用対効果の分析は実施しない。

・ 実施した分析

- | |
|--|
| <input type="checkbox"/> 費用効果分析 (増分費用効果比を算出する) |
| <input type="checkbox"/> 費用最小化分析 (効果は同等として費用を比較する) |
| <input type="checkbox"/> その他() |

5.1.1 基本分析の増分費用、増分効果、増分費用効果比

- ・ 分析対象集団ごとに、分析の結果を下表にまとめて詳細に記載する。
- ・ 可能な場合は、費用について、下表のような内訳も示す。

・ 分析結果の要約

| | 効果 (QALY) | 増分効果 (QALY) | 費用 (円) | 増分費用 (円) | ICER(円 /QALY) |
|--------|-----------|-------------|--------|----------|---------------|
| 評価対象技術 | | | | | |
| 比較対照技術 | | | | | |

・ 費用の内訳の詳細

| | 評価対象技術 | 比較対照技術 |
|-----------------|--------|--------|
| (例) 医薬品 A の投与費用 | | |
| (例) 画像検査費用 | | |
| (例) 有害事象への対処費用 | | |
| (例) 手術費用 | | |
| ... | | |

5.1.2 感度分析

- ・ 感度分析の結果を記載する。
- ・ 分析ガイドライン 14 章「不確実性の取り扱い」を参照すること。
- ・ 不確実性を有するパラメータ(推定値のばらつきの大きなパラメータ、実際のデータではなく仮定に基づき設定したパラメータ、諸外国のデータで国内のデータと異質性を有する可能性があるパラメータ等)や割引率については感度分析を行い、その結果を下表にまとめて記載する。同時にトルネードダイアグラムを添付してもよい。
- ・ 結果に大きな影響を与えるにもかかわらず、不確実性の大きなパラメータについては、基本分析において用いた値の妥当性について十分な説明が必要である。また、その不確実性の結果として、意思決定へ与える影響について検討する。
- ・ 当該医療技術の費用についても一次元感度分析を実施する。
- ・ 割引率は、感度分析の対象とし、費用・効果を同率で年率 0% から 4% の範囲で変化させる。
- ・ 確率的感度分析(Probabilistic sensitivity analysis: PSA)を行った場合は、使用したパラメータの分布についても明らかにするとともに、費用効果平面上の散布図と費用効果受容曲線(Cost-effectiveness acceptability curve: CEAC)を提示する。
- ・ 費用対効果評価専門組織からの指示に基づいたシナリオ分析を実施する場合はここに記載する。

| | パラメータの範囲 | | 範囲設定の 根拠 | ICER の範囲 | |
|-------------|----------|----|-------------|----------|----|
| | 下限 | 上限 | | 下限 | 上限 |
| (例) パラメータ A | | | | | |
| (例) パラメータ B | | | | | |
| (例) パラメータ C | | | | | |
| ... | | | | | |

5.1.3 分析の妥当性の検討

- ・ モデルや分析結果の外的妥当性について記載する。特に、推計された費用や効果について既存の臨床研究や統計、長期的な疫学調査との整合性等について記載する。

5.1.4 分析結果の解釈

- ・ 5.1.1 節から 5.1.3 節までの結果から、分析対象集団ごとに最も ICER が所属する確率の高いと考える区間とその理由について、対象集団ごとに下表に記載する。

- ・ QALY 以外のアウトカム指標を用いて ICER を算出した場合は、結果の解釈について説明する。

| | |
|-------------------------|---|
| 分析対象集団 | |
| 比較対照技術 | |
| ICER の基準値 | <input type="checkbox"/> 通常の品目 <input type="checkbox"/> 配慮が必要な品目 |
| ICER の所属する確率が最も高いと考える区間 | <input type="checkbox"/> ドミナント <input type="checkbox"/> 効果が同等、かつ費用が削減 <input type="checkbox"/> 効果が同等、かつ費用が同等 <input type="checkbox"/> 200 万円/QALY 未満 <input type="checkbox"/> 200 万円/QALY 以上 500 万円/QALY 未満 (200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満) <input type="checkbox"/> 500 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満 (750 万円/QALY 以上 1,125 万円/QALY 未満) <input type="checkbox"/> 750 万円/QALY 以上 1,000 万円/QALY 未満 (1,125 万円/QALY 以上 1,500 万円/QALY 未満) <input type="checkbox"/> 1,000 万円/QALY 以上 (1,500 万円/QALY 以上) <input type="checkbox"/> 効果が同等(あるいは劣り)、かつ費用が増加 その他() |
| そのように判断した理由 | |

5.1.5 価格調整率の重み [該当する場合のみ]

- ・ 複数の分析対象集団がある場合は価格調整率の重み(使用患者数の割合)とその根拠について記載する。使用患者数は各集団において、評価対象品目に関する現在の臨床実態や使用実績等を考慮して、長期的な観点からの患者割合(特許期間の累積患者数に基づく患者割合等)を推計する。
- ・ 原則として公表可能な状態とする。

5.1.6 価格の引き上げ【該当する場合のみ】

- ・ 当該品目の価格の引き上げを希望する場合は条件①

(一)対象品目に係るメタ解析及びシステマチックレビューを除く臨床研究が、次のいずれにも該当すること。

(ア)対象品目に係る新規の臨床研究に関する論文が、impact factor (Clarivate analytics 社の“InCites Journal Citation Reports”により提供されている impact factor をいう。)の平均値(当該論文の受理又は論文掲載時から過去5年間の平均値)が15.0 を超える学術誌に原著論文として受理されていること。ただし、他の条件をすべて満たすものの、「impact factor が15.0 を超える」という条件について、疾患領域の特性等により満たすことが困難な場合は、査読を受けた英文の原著論文であり、専門組織で議論し、論文が十分、科学的に妥当であると判断される場合には、当該条件を満たすものとみなす。

(イ)当該論文を受理した学術誌が、レビュー雑誌又は創刊10年以内の学術誌でないこと。

(ウ)当該臨床研究において、比較対照技術より効果が増加することが、日本人を含む集団において統計学的に示されていること。

条件②

対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること。

の2条件を満たしていることの根拠を提示する。

5.2 公的介護費や生産性損失を含めた分析【該当する場合のみ】

- ・ 公的介護費や医療技術に直接起因する生産性損失を含めた分析を行った場合はその結果を記載する。

5.3 その他の分析【該当する場合のみ】

- ・ 費用対効果評価専門組織で決定された分析枠組み以外の分析はここに記載する。(例:製造販売業者が独自に設定したシナリオ分析やサブグループ分析)

6. 再分析用のデータ

- ・ 再分析用データについては、結果が再現等可能になるよう電子ファイルの形式で提出する。その際、入力するパラメータ等は操作可能な状態にしておく。第三者の専門家が理解でき、かつ、原則としてすべてのパラメータ(推移確率、QOL 値、費用)を変更できる形で作成する。
- ・ 費用については、その全体額のみでなく、それらの詳細(積み上げの場合は各資源消費量と単価など)を変更できるようにしておくことが望ましい。特に評価対象技術や比較対照技術の単価については、第三者が変更できるようにしておく。
- ・ 必要に応じて、パラメータ名とそれが指し示すものについて一覧表を添付する。
- ・ 使用したソフトウェアとバージョン、ファイル名、提出方法(電子メール、USB メモリ、CD-R 等)について別添の表形式で記載する。
- ・ ネットワークメタアナリシスを実施した場合、第三者が再現可能なデータと解析プログラムを可能な限り提出し、別添の表形式で記載する。

| 使用したソフトウェア | バージョン | ファイル名 | 提出メディア |
|------------|-------|-------|--------|
| | | | |
| | | | |

7. 実施体制

- ・ 費用対効果評価を実施するにあたって研究機関等に所属する医療経済学等の専門家や臨床家等に分析の助言や実施を依頼した場合は、その名前と所属、役割、利益相反等を記載すること。
- ・ 上記の協力を受けた研究者の個人名や所属については原則として公開しない。

8. 参考文献

- ・ 使用した参考文献について記載する。文献の引用は ICMJE の推奨するいわゆる「バンクーバー方式」(https://www.nlm.nih.gov/bsd/uniform_requirements.html)を用いる。