

医薬品・医療機器等の費用対効果評価案について

	品目名	効能・効果	収載時価格	うち有用性系 加算率	市場規模 (ピーク時予測)	費用対効果評価区分	総会での 指定日	頁
①	ゴア CTAG 胸部大動脈 ステントグラフトシステム	※	1,490,000 円	5%	92 億円	H 2 (市場規模が 50 億円以上)	2023/7/5	2
②	リットフォーロカプセル (リ トレシチニブトシル酸塩)	円形脱毛症(ただし、脱 毛部位が広範囲に及ぶ難 治の場合に限る)	5,802.40 円 (50mg 1 カプセル)	5%	156 億円	H 1 (市場規模が 100 億円以上)	2023/8/23	5

※ 本品は胸部下行大動脈病変のうち一定の要件をみたす疾患の治療に用いられるステントグラフト及びデリバリーカテーテルからなるステントグラフトシステムである。

医薬品・医療機器等の費用対効果の総合的評価案について

対象品目名：ゴア CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム（ゴア®TAG®コンフォーマブル胸部大動脈ステントグラフトアクティブコントロールシステム）

製造販売業者名：日本ゴア合同会社

使用目的又は効果：胸部大動脈瘤患者、合併症を伴う Stanford B 型大動脈解離（解離性大動脈瘤を含む）のうち内科的治療が奏功しない患者、外傷性胸部大動脈損傷患者

対象集団	比較対照技術	ICER（円/QALY）の区分	患者割合（%）
胸部大動脈瘤患者	大動脈用ステントグラフト（胸部大動脈用・メイン部分・標準型）	費用削減	61.1%
合併症を伴う Stanford B 型大動脈解離（解離性大動脈瘤を含む）のうち、内科的治療が奏功しない患者	大動脈用ステントグラフト（胸部大動脈用・メイン部分・標準型）	費用削減	38.9%

※1 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いた ICER の区分を用いる。

※2 決定された ICER の区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。

(参考) ゴア CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステムの費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組み

分析対象集団	胸部大動脈用ステントグラフトを用いてステントグラフト内挿術を受ける患者のうち、以下の者 (a) 胸部大動脈瘤患者 (b) 合併症を伴う Stanford B 型大動脈解離（解離性大動脈瘤を含む）のうち、内科的治療が奏功しない患者
比較対照技術名	(a) 大動脈用ステントグラフト（胸部大動脈用・メイン部分・標準型） (b) 大動脈用ステントグラフト（胸部大動脈用・メイン部分・標準型）
その他	特記事項なし

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

(専門組織の見解)

- ・ 外傷性胸部大動脈損傷患者に対する適応は、現場でのニーズが高く非常に重要である。一方で、本品目の適応疾患に占める割合が限定的であることから、提案のとおり分析対象集団に含めないことは妥当である。

(企業の不服意見)

- ・ なし

3. 費用対効果評価結果案策定に係る専門組織での主な検討事項

公的分析が再分析を行った主な点は以下の通りである。

(追加的有用性におけるアウトカム指標について)

製造販売業者は、追加的有用性の評価に際し、アウトカムとしてデバイスの初回留置本数、全生存率、再手術発生率、ラピッドペーシング実施率を設定した。ラピッドペーシングの目的は、手技を正確に行うことであり、その実施率の低下が必ずしも安全性の向上を意味するものではない。デバイスの初回留置本数は、費用には大きく関係するものの、それ自体が長期的なアウトカムの改善へ寄与するかについては明らかではない。したがって、ラピッドペーシング実施率及びデバイスの初回留置本数はプロセス指標と考えられ、追加的有用性の評価指標として使用することは妥当ではないと考える。

(追加的有用性の評価で使用するデータについて)

公的分析が実施したシステマティックレビューでは、評価対象技術と比較対照技術を比較したランダム化比較試験および直接比較した臨床研究は同定されなかった。製造販売業者は、評価対象技術に関する唯一の報告である SURPASS レジストリの追跡期間が 1 年間と短期間であることを理由に、評価対象品目の前世代品のレジストリである GREAT レジストリを本品のデータとみなし、他の比較対照技術 (Valiant 等) のレジストリである MOTHER レジストリとの比較により全生存率および再手術発生率に係る追加的有用性を検証した。しかし、前世代品は比較対照技術であるため、GREAT レジス

トリを評価対象技術のデータとして代用することは妥当ではなく、SURPASS レジストリを用いるべきと判断した。

上記の論点に関し、企業側から公的分析の見解に対する意見はなかった。

以上を踏まえ、専門組織で議論し、追加的有用性のアウトカム指標について及びレジストリデータの妥当性について、下記のとおり、公的分析結果が妥当であると考えられた。

- ・ 製造販売業者の提示した追加的有用性評価のアウトカムのうち、デバイス使用本数やラピッドペーシング実施率はプロセス指標である。アウトカム指標としては公的分析が採用した全生存率や再手術率の方が妥当である。
- ・ SURPASS レジストリを用いて全生存率、再手術発生率の評価は困難だったため、追加的有用性が示されているとは判断できなかった。
- ・ デバイスのデリバリーシステムに改良が加えられた新技術により、術者の負担が軽減されることは臨床現場において感じることはある。しかしながら、このような利点は、定量的なデータの提示なしには費用対効果評価に反映することは難しい。

また、価格引き上げについては、上記のとおり追加的有用性が示されていないこと、本品と比較対照技術はステントグラフト自体が同じ製品であることから、価格調整係数決定に係る項目（一）対象品目の効果が比較対照技術に対し増加又は同等であることが、メタ解析及びシステマティックレビューを除く臨床研究により示されていること、（二）対象品目の基本構造や作用原理が比較対照技術と著しく異なる等一般的な改良の範囲を超えた品目であること、いずれにも該当せず、価格引き上げ要件を満たさないと決定された。

上記専門組織の決定について、製造販売業者から、価格引き上げの要件への該当性について不服意見が出された。専門組織では、以下の通り議論され、本費用対効果評価の結果は価格引き上げ要件を満たさず、分析結果等については公的分析結果が妥当であると結論づけられた。

- ・ 企業から新たに提出された結果はレジストリ研究に基づく、アンカーのない間接比較であり、研究デザイン上の不確実性が大きい。また得られた結果の信頼区間の幅も広く、詳細は不明であり、何らかの判断を行うことは困難であるものと推測される。
- ・ 本対象品目は前世代品に対し、アクティブコントロール機能を付与した点が異なるものであり、既存ステントグラフトの一般的な改良の範囲に留まると考えるのが適切である。

<参考：本資料に係る留意事項>

- ・ 総合的評価では、企業分析及び公的分析双方とも一定の科学的妥当性が認められている。
- ・ 「専門組織での主な検討事項」は、双方の主な見解の相違部分を抜粋したものである。
- ・ 費用対効果評価の詳細については、国立保健医療科学院から公表される報告書を参照されたい。

(以上)

医薬品・医療機器等の費用対効果の総合的評価案について

対象品目名：リットフーロカプセル（リトレシチニブトシル酸塩）

製造販売業者名：ファイザー株式会社

効能・効果：円形脱毛症（ただし、脱毛部位が広範囲に及ぶ難治の場合に限る）

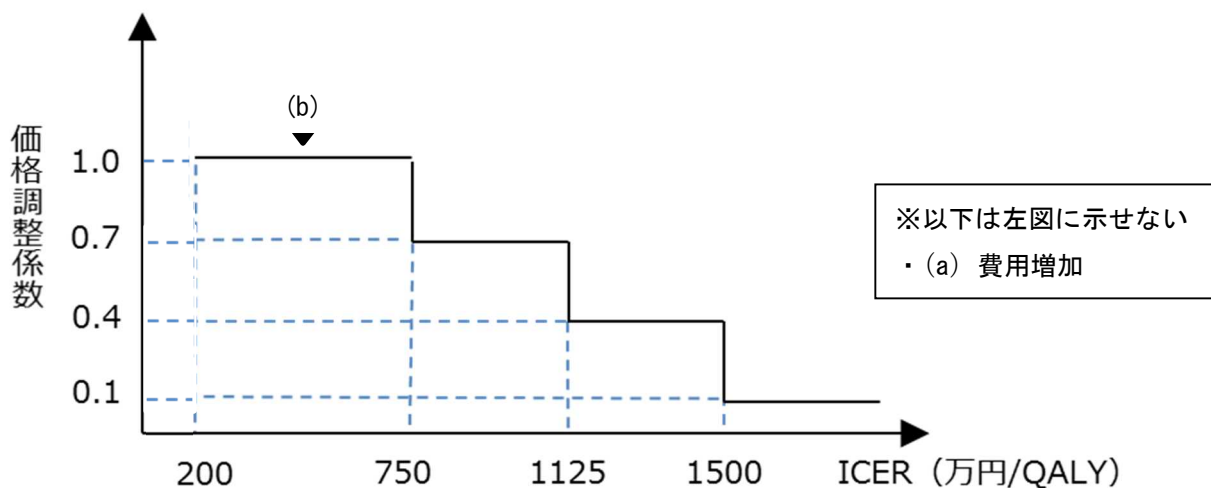
対象集団	比較対照技術	ICER（円/QALY）の区分 ^{※1, 2}	患者割合（%）
(a) 頭部全体の概ね 50%以上に脱毛が認められる成人の円形脱毛症患者	バリシチニブ	費用増加	91.9%
(b) 頭部全体の概ね 50%以上に脱毛が認められる小児の円形脱毛症患者	Best supportive care	200 万円/QALY 以上 750 万円/QALY 未満 ^{※3}	8.1%

※1 価格決定に当たっては、その時点における対象品目並びに比較対照技術の最新の価格及びその価格を用いた ICER の区分を用いる。

※2 決定された ICER の区分について、価格決定の時点における対象品目及び比較対照技術の最新の価格を用いて、機械的に再計算し、区分が変更される場合がある。

※3 価格調整における配慮への該当性について、分析対象集団 (b) のみ該当あり。

（補足）分析対象集団の ICER の区分（有用性系加算等の価格調整係数）



(参考)リットフォーロカプセルの費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組み

分析対象集団	(a) 頭部全体の概ね 50%以上に脱毛が認められる成人の円形脱毛症患者 (b) 頭部全体の概ね 50%以上に脱毛が認められる小児の円形脱毛症患者
比較対照技術名	(a) バリシチニブ (b) Best supportive care
その他	(該当せず)

2. 分析枠組みに係る専門組織での主な検討事項

(専門組織の見解)

- ・ 本剤の対象集団は脱毛範囲の広い患者であり、脱毛による心理的影響は大きいと考えられる。
- ・ 本剤の投与期間については、薬剤を止めると脱毛が再燃するため、通常治療は複数年続けるのではないか。

(企業の不服意見)

- ・ なし

3. 費用対効果評価結果案策定に係る専門組織での主な検討事項

企業分析を踏まえ、公的分析が再分析を行った主な点は以下の通りである。

- ・ 分析対象集団 (b) における 15 歳以降の後治療 (バリシチニブ) について

製造販売業者のモデルでは、分析枠組み上の比較対照技術である Best supportive care (BSC) が生涯にわたって継続されると仮定している。小児集団においては、成人 (15 歳以上) に達するとバリシチニブが治療選択肢となるが、製造販売業者の分析はこの点の臨床実態を反映していない点で課題がある。この点について公的分析が製造販売業者に照会を行ったところ、製造販売業者は分析期間を 3 年にすることを提案したが、そのような分析を行った場合にも同様の課題がある上に、短期の分析期間ではリトレシチニブの費用や効果に対する長期的な影響を十分に評価できないと考えられた。

したがって公的分析では、比較対照技術群について 15 歳以降はバリシチニブによる治療を受ける設定での再分析を行った。なお、その際、15 歳以降における両剤の費用をバリシチニブの薬価に統一し、両剤の薬価に差を設定しないことで、リトレシチニブのバリシチニブに対する ICER の値を過大推計しない設定を基本分析として採用した。またシナリオ分析として、分析枠組み上の比較対照技術である BSC が生涯にわたって継続される設定での再分析および分析期間を 3 年とした場合の再分析を行った。

(製造販売業者の見解)

公的分析の再分析結果に対して製造販売業者から提示された論点は以下のとおりである。

- ・ 分析対象集団 (b) について

分析対象集団 (b) 小児集団における比較対照技術が「12-14 歳では BSC」、「15 歳以降ではバリシチニブ」とする設定は、分析前協議の決定事項と異なる考える。また、リトレシチニブ

の薬価を12-14歳はリトレチニブ、15歳以降はバリシチニブの薬価とし、年齢によってリトレチニブの薬価が変わる設定は、実臨床に即していない。よって、公的分析が行ったシナリオ分析（小児集団の分析期間を3年間〔12-14歳〕とし、15歳以降の期間は分析に含めない）の結果を最終結果として採用することが妥当ではないか。

（専門組織の見解）

以上を踏まえ、主な論点として、分析対象集団（b）における15歳以降の後治療について、下記のとおり専門組織で議論が行われ、公的分析の提示したシナリオ分析のうち、分析対象集団（b）における比較対照技術をBSC、評価対象技術をリトレチニブとした分析の結果を採用することが妥当と考えられた。

- ・ 臨床現場では、15歳以降の治療選択肢は、BSC、バリシチニブまたはリトレチニブ等、様々な選択肢が考えられる。
- ・ 本薬剤は、小児のアンメットニーズに応える薬剤であるが、企業の提案のように、12歳から15歳という短い期間を分析期間とすることは、費用対効果の評価の方法論としては十分ではないのではないか。
- ・ 分析期間の大半が成人期であることから、15歳以降の治療を規定することにより分析結果に大きく影響を与えることを考えると、薬価を揃えて分析した場合や分析結果を3年に限って分析した場合などの企業及び公的分析が提示したもののうち、最終的には、公的分析のシナリオ分析の結果の1つを採用することが妥当ではないか。

＜参考：本資料に係る留意事項＞

- ・ 総合的評価では、企業分析及び公的分析双方とも一定の科学的妥当性が認められている。
- ・ 「専門組織での主な検討事項」は、双方の主な見解の相違部分を抜粋したものである。
- ・ 費用対効果評価の詳細については、国立保健医療科学院から公表される報告書を参照されたい。

（以上）