



医療機器の薬事申請・保険適用申請における 国内オープンデータ活用に関する調査研究 (エグゼクティブサマリー)

竹下 康平(東京慈恵会医科大学 先端医療情報技術研究部 助教)

医療機器上市のためには大きく分けて 2 つの行政プロセスがあり、薬事では有効性と安全性の確認、保険では価格の根拠を求められる。説明の目的は異なるものの説明に使用する項目・事項としては共通する部分もあり、共通部分に対する認識を持っていなければ、いずれか一方のプロセスのみを考えて項目の説明内容を決定し、もう一方についての側面で見直したときに内容が交渉で不利に働くといった可能性がある。

研究では行政上必要な一般情報が入手可能となるよう、筆者が PMDA、厚生労働省、医療機器メーカーでのキャリアでこれまで培ってきた経験を活かし、薬事申請と保険適用希望申請における共通項目の洗い出しを行うこととした。

また、昨今の診療報酬における新規医療機器の評価では大幅な加算が見込めない状況にあり、厳しさを増しているように感じられる。既存の治療法に比して付加価値があることをエビデンスとともに示す難しさが露呈した結果だと考えられ、もはや加算はオマケ的な位置づけでビジネスの成否には直接的に影響を及ぼさなくなっていくかもしれない。むしろ、想定される最低限の利ザヤで出荷が見込まれる患者がマーケットとしてどの程度いるのかを精度よく見積もることの方が重要であると思われる。本調査研究では、新製品の開発を念頭に、行政上必要となる薬事・保険適用申請の書類作成において活用可能なオープンデータを調査し、活用可能な形で提供することを目的とし、主に NDB をはじめとしたオープンデータの利用について医療機器開発におけるマーケットを確認する視点で、体系的な使用方法と開発にあたって必要な予備検討の在り方について調査を行った。

通知上の要求事項をまとめた結果を見ると、保険適用希望申請時に薬事で使用した書類を転記する箇所としては、販売名や類別、一般的名称、承認書の各欄、治験の有無、希少疾病用医療機器の指定があった。そのほかにも転記ではないが、薬事審査時に行政側で発行される承認番号、承認日、タイムクロック管理票、審査報告書が保険適用希望申請に必要であった。保険適用希望申請に必要な項目の多くは薬事申請における記載事項と関係しており、関係がないと考えられたのは、価格に関するもの、及び流通に関連する製品コード、薬事審査上の明確な位置づけを持たないパンフレット及び取扱説明書であった。関係があると考えられる項目は、承認申請書の名称欄(一般的名称)、使用目的又は効果欄、形状、構造及び原理欄、原材料欄、保管方法及び有効期間欄、製造販売する品目の製造所欄、備考欄(添付文書(案))、及び添付資料項目の 1. 1 品目の概要、1. 2 開発の経緯、1. 3 類似医療機器との比較、1. 4 外国における使用状況、4. 設計検証及び妥当性確認文書の概要、5. 添付文書(案)、8. 1 臨床試験成績等、8. 2 臨床試験成績等のまとめ、9. 製造販売後調査等の計画であり、薬事申請時に行うこれらの欄の記載が保険適用希望申請時にどのように影響を与えるのか検討する必要があることがわかった。また、申請企業が直接的には作成しない承認条件や審査報告書についても影響があるため、PMDA へ

の情報提供の仕方では注意深く対応する必要性が改めて認識された。

オープンデータを用いた患者数については、全体像として厚生労働統計の患者調査、各患者又は疾患ステージごととして NDB オープンデータや学会等によって行われる調査、レジストリーのデータを活用することが可能であった。NDB オープンデータでは特定保険医療材料と対応する手技のように、対応関係のある指標が取得可能であれば算定上限個数が設定されている場合に解釈に注意が必要であるものの 1 手技あたりの使用個数も把握可能であった。薬物療法については 1 患者に対する使用個数が明らかになりにくいことから、少なくともオープンデータの形では各疾患ステージの分析が直接的には困難であった。医薬品の適応症と用量が固定されているなど特殊な疾患であれば、患者数の推定に使用可能かもしれない。基本的に既存の検査や治療がある分野での製品開発であれば既存の当該手技の件数を把握することでマーケットサイズの推定が可能であるが、ある疾患の患者のうち特定の条件を満たす際に限り使用される製品といった場合には、追加的にガイドラインや論文からの疫学データから検討することが適切と考えられた。データの分析ではそのデータの収集された特性を把握することが重要であり、NDB に関しては公費レセプトが含まれていないとされていることから公費負担の多い医療の把握には注意が必要と考えられる。

本リサーチペーパーは、研究上の討論のために配布するものである。本リサーチペーパーを研究上の討論に引用、利用することは妨げないが、引用、利用または参照等したことによって生じたいかなる損害にも著者、公益財団法人医療機器センター及び医療機器産業研究所のいずれも責任を負いません。

本リサーチペーパーに記された意見や考えは著者の個人的なものであり、公益財団法人医療機器センター及び医療機器産業研究所の公式な見解ではありません。

本紙はサマリー版です。完全版は研究協力制度にお申込み頂いた方だけに配布しております。

【内容照会先】

公益財団法人医療機器センター附属医療機器産業研究所

電話: 03-3813-8553 FAX: 03-3813-8733

E-mail: mdsi@jaame.or.jp

Research on utilization of domestic open data in medical device regulatory and insurance applications

(Executive Summary)

Kohei Takeshita, MPharm, Research Associate
Department of Innovation for Medical Information Technology,
Jikei University School of Medicine

There are two main administrative processes for launching a medical device. Medical device regulatory affairs process requires verification of efficacy and safety, and insurance process requires rationales for pricing. Between the two processes, the purpose of explanation is different, but some of the items used in explanation are common. If there is no recognition of the common part, it is possible that the content of the explanation will be decided by considering only one of the processes and the negotiation may become disadvantageous in the aspect of the other process.

In this survey study, it was decided to identify and review the items common between the application related to medical device regulatory affairs and the application for insurance coverage utilizing the author's careers and experiences in the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA), the Ministry of Health, Labour and Welfare and a medical device manufacturer so that the administrative information generally needed would be available.

In addition, in the recent medical service fee evaluation for new medical devices in Japan, it is felt that premium pricing cannot be anticipated, and severe prices are increasing. This is considered to be the result of disclosing the difficulty in showing the presence of added value in comparison with the existing therapy using sufficient evidences. The premium pricing may no longer have direct influences on the business success because of the bonus-like positioning. It is rather considered important to precisely estimate, as the market, the number of patients for whom the medical device concerned can be released with the minimum presumed profit. The purpose of this survey study is to investigate open data that can be utilized for preparing documents for regulatory and insurance applications and to provide such data in a usable form, with a view to the development of new products in mind. We conducted a survey on the systematic use of NDB and other open data from the viewpoint of market verification in medical device development.

According to the summary of the items required in the administrative notifications, as the items to be copied on filing the application for insurance coverage from the documents used in the application related to regulatory affairs, the following are included: brand name, classification, non-proprietary name, each column of application form, conduct of clinical trial, and designation of orphan medical device. As other items not to be copied, the following are necessary on filing the application for insurance coverage: approval number, approval date, time clock control slip, and review report, which are issued by the regulatory authority in review of regulatory affairs. Many of the items necessary on filing the application for insurance coverage are related to the items described on filing the application related to medical device regulatory affairs, and the items

considered as not related are pricing-related item, product code related to distribution, and pamphlet and instruction manual not clearly positioned in the pre-market review process. The items considered as related are name column of application form (non-proprietary name), column of intended use or indication, column of shape, structure and principle, column of raw material, column of storage method and effective term, column of manufacturing site for the product manufactured and marketed, column of remarks (package insert [draft]), and columns of attached materials (1.1 Product outline, 1.2 Development history, 1.3 Comparison with similar medical device, 1.4 Use in foreign countries, 4. Summary of documents for design verification and reasonability confirmation, 5. Package insert [draft], 8.1 Clinical trial results, etc., 8.2 Summary of clinical trial results, etc., and 9. Plan of post-marketing surveillance, etc.). It was found necessary to examine what influences the contents described in these columns on filing the application related to regulatory affairs would give on the contents described on filing the application for insurance coverage. In addition, since the approval conditions and the review report which are not directly prepared by the applying company are also influenced, it was recognized again that careful attention should be paid in content negotiation with PMDA.

Concerning the number of patients calculated using the open data, the patient survey results in the statistical surveys conducted by the Ministry of Health, Labour and Welfare can be utilized as the entire image, and the NDB open data and the data of survey or registry conducted by each academic society can be utilized in each patient or disease stage. In case of NDB open data, it is possible to grasp also the number of devices used in each procedure, although attention is needed in interpretation in a case where the insurance coverage limitation is set when the correspondence indicators can be obtained like the relation between specified insurance medical material and corresponding procedure. For drug therapy, it is difficult to clarify the number of drugs used in each patient, and it is difficult to directly analyze each disease stage at least in the form of open data. It may be used to estimate the number of patients with a specific disease, such as a drug with a fixed indication and dose. In case of product development in the field where the existing examination and treatment are available, it is basically sufficient to grasp the number of procedures concerned, but in case of a product used only when patients with a certain disease meet special conditions, it is considered appropriate to make additional investigations with the epidemiological data obtained from the guidelines and articles. In data analysis, it is important to grasp the collected characteristics of the data, and it is considered necessary to pay attention on grasping the medical practice with public expenses since it is said that the public expense receipts are not included in NDB open data.

This research paper is intended to be a material for research and discussion. It may be cited and discussed for research purposes, but any damage or loss caused by citing and/or discussing and/or referencing it is not compensated by the author, Japan Association for the Advancement of Medical Equipment, and/or the Medical Device Strategy Institute.

The opinions and/or ideas described in this research paper are the author's and do not represent the official views of the Japan Association for the Advancement of Medical Equipment and/or Medical Device Strategy Institute.

This is an Executive Summary. The full text is distributed to supporting members of the Medical Device Strategy Institute.

[Contact information]

Medical Device Strategy Institute,
Japan Association for the Advancement of Medical Equipment
TEL: +81-3-3813-8553 FAX: +81-3-3813-8733
E-mail: mdsi@jaame.or.jp