

第13回・医療・介護WT (ワーキング・チーム) 次第

2012年4月20日(金) 13:45～
衆議院第2議員会館地下2階 民主党C会議室
医療・介護WT座長 柚木 道義
(進行) 医療・介護WT座長 柚木道義

【議 題】

- (1) 会長挨拶
- (2) 団体ヒアリング

【団体ヒアリング】

医療技術の費用対効果評価及び長期収載品の薬価の在り方に関するヒアリング

日本製薬団体連合会
Efpia (欧州製薬団体連合会)
PhARMA (米国研究製薬工業協会)

以上

次回のヒアリング 未定

医療技術等の評価における費用対効果の導入の検討について

日本製薬工業協会

中央社会保険医療協議会においては、医療技術（薬剤、材料を含む）評価における費用対効果の導入の検討をするための場を新たに設けることとしている。

日本製薬工業協会としては、医薬品の価値、特にイノベーションを適切に評価することは大変重要であるが、費用対効果の導入については、以下のような問題点があると考えます。

すでに諸外国で先行的に導入されている費用対効果を勘案した医療技術評価を見ると、その実態は①患者さんの医薬品へのアクセスを阻害する結果となる保険償還の制限、②薬剤費抑制に主眼をおいた価格設定、に用いられている。その結果、患者さんが必要とする医薬品がタイムリーに臨床現場に届かず、例えば英国では患者団体による抗議デモにまで発展している。

加えて、わが国においては、費用対効果分析の際に必須の疫学的データ（疾病毎の罹患率、死亡率等）や当該疾病の治療に必要な医療費のデータベースすら完備されておらず、客観的・科学的な評価に使用できる環境にはない。また、費用対効果分析・評価にあたっては、治験デザインの変更、新たな試験データの集積、適切な評価モデルの構築が必要となる。さらには結果分析とその評価は関係する当事者間で十分なコンセンサスを得る必要がある。

拙速な導入を図れば、欧州に見られるように患者さんが必要とする医薬品を適確に医療の場に届けることができないという結果を生み、革新的新薬の臨床現場における貢献を著しく阻害することとなる。

日本製薬工業協会としては、これらの課題が存在し、かつ、費用対効果を勘案した医療技術等の評価そのものの共通認識が当事者により醸成されないまま、性急に導入することには反対である。上記の課題から明らかなように、本評価の導入は、わが国の医療の根幹にも係る問題であり、議論の場においては、患者さんはもとより、医療提供者、支払い側等全ての当事者による、共通認識の形成、問題意識の共有化を踏まえ、導入の是非も含めた幅広い検討が必要であると考えます。

我々は医薬品を提供するという、まさに当事者として、この議論に積極的に参加し、より良い医療の実現に貢献していく所存である。

以上

諸外国の使用例

<p>英国</p>	<p>保険償還の可否に使用しており、患者の医薬品使用のアクセスが制限 革新的新薬の臨床使用の遅れなどが生じている。 当初は、標準的医療を目的として導入されたが、現在では、費用対効果の閾値に収めることが償還の条件になりつつあり、企業に薬剤費の一部負担を求める政策が導入されている。なお、医薬品の価格は自由価格制。</p>
<p>ドイツ</p>	<p>2011年に導入された新たな制度 (AMNOG) により、追加的有用性が評価され、その結果を価格交渉に使用、評価結果によっては新薬も参照価格で価格算定される。 評価方法の不透明性・混乱により、新薬の販売を見送る企業が出てきていることなどで、アクセスに影響が現れ始めている。医薬品の価格は自由価格制であったが、AMNOGにより自由価格は上市後1年間のみ限定された。</p>
<p>フランス</p>	<p>償還率 (SMR) の決定、医薬品価格決定の指針 (ASMR) において、臨床上の追加有用性を評価 (経済性は含まない)。しかしこれらの評価結果が価格算定に用いられることから、近年評価が厳格化しており低い評価が行われる場合がある。 一部の既存薬の再評価には費用対効果を導入予定。</p>
<p>韓国</p>	<p>保険償還可否に使用し、審査・プロセスの遅延により患者の医薬品アクセスが制限。 不十分、不透明な経済評価で、保険償還価格を一律的に引き下げることにより、企業の開発インセンティブをそぐなど問題が多い。</p>
<p>カナダ</p>	<p>償還リスト掲載の可否に利用 患者アクセスの制限</p>
<p>オーストラリア</p>	<p>償還リスト掲載の可否に利用 患者アクセスの制限、価格引き下げ</p>

**諸外国における費用対効果の観点からの医療
技術評価(Health Technology
Assessment)の利用**

**民主党 「厚生労働部門 医薬・介護WT」
ヒアリング**

**2012年4月20日
日本製薬工業協会
国際委員会委員長
土屋 裕**



英国

- 国立医療技術評価機構(NICE)が、QALYを指標とする費用対効果に基づくHTAを実施し、3万ポンド/QALYの閾値を基に、保険償還の可否の決定している。
- QALYを用いる費用対効果の評価は課題が多い。
 - 疾患の重症度(末期がん)、患者さんの年齢(小児)などを考慮しない一律の評価であり、患者さんにとって医薬品がもたらす異なる価値が十分に反映されない。
 - QALY計算には看護費用など治療・ケアにかかる全費用が勘案されていない。
- 英国では革新的新薬へのアクセス問題が深刻化している。
 - 5年以内に上市された抗がん剤へのアクセスは、英国は欧米14か国中ワースト3位
- NICEが推奨しない治療薬へのアクセス問題により、患者団体が反発、デモ行進に発展した(2007年~2008年 右上写真)。
- 2014年から新薬価制度(Value based Pricing)が導入される。

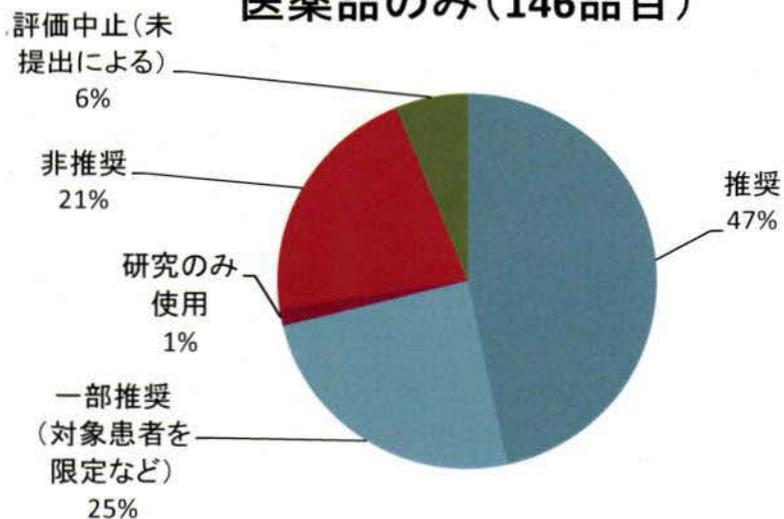


NICEの評価結果

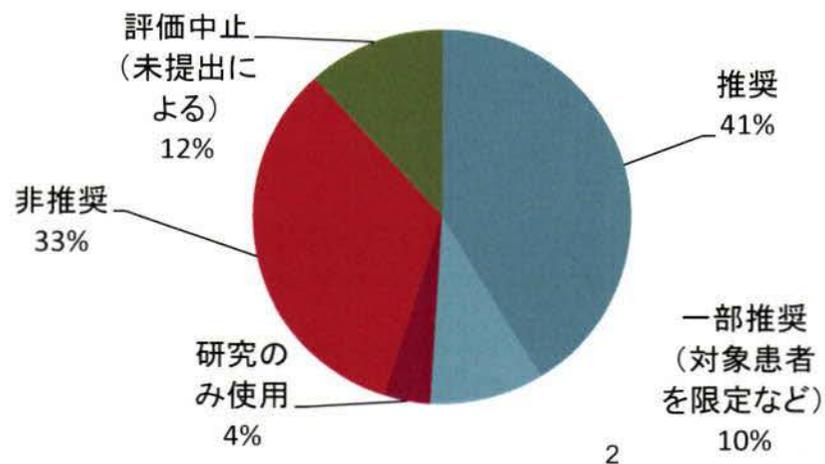
NICEの医療技術評価ガイドンスにおける評価結果(2008年~2011年10月)

NICEの評価結果	全評価技術(数)	医薬品のみ	抗がん剤のみ
推奨	74	68	21
一部推奨(対象患者を限定など)	40	36	5
研究のみ使用	4	2	2
非推奨	33	31	17
評価中止(未提出による)	9	9	6
	160	146	51

NICEの評価結果 医薬品のみ(146品目)



NICEの評価結果 抗がん剤のみ(51品目)



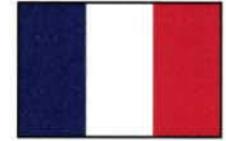


韓国

- 2007年、英国様の費用対効果を基とするHTAを導入したが、新薬の評価プロセスが長引き、薬価決定率は導入以前より低下した。
- 既存薬のHTAは「失敗」と評価される
 - 片頭痛薬と高脂血症薬の費用対効果を実施したが、その後、他の製品で経済評価は進んでいない。
 - 2010年7月、韓保健省は経済評価による薬価引き下げ効果が遅延していると判断し、(費用対効果ではない方法で)既収載品目に対し20%薬価を一括引下げする方針に変更。
- 5年を経過した現在でもHTAを反映した薬価決定はできていない。



ドイツ・フランス



- ・ドイツおよびフランスでは、英国NICEのようなQALYによる「費用対効果」の評価は導入していない。
 - ドイツでは2011年医療品市場再編法(AMNOG)が施行されHTAを導入。自由薬価による発売1年以内に、医療の質・効率研究所(IQWiG)が新薬の比較対照薬に対する有用性の評価を行い、その結果を価格交渉に使用される予定である。
 - フランスでは、疾患の重篤度(SMR)を公的保険による医薬品の償還率を決定。医薬品の革新性(有効性と安全性)を既存治療(薬)と比較・評価した結果(ASMR)を価格交渉に用いる。一部の既存薬の再評価に費用対効果による評価を導入する予定である。

2012年4月20日

報道関係各位

欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan)
会長 フィリップ・フォシェ

医療技術評価 (HTA) の導入に関する欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan) の見解について

中央社会保険医療協議会 (中医協) では、2014年～2016年の HTA 導入に向けての体制構築をはじめ、専門家による議論を始めようとしています。

これを受けまして 4月18日には、日本製薬工業協会がポジションペーパーを公表いたしました。が、欧州製薬団体連合会 (以下 EFPIA Japan) は日本製薬工業協会の見解を支持いたします。

私たちは、EFPIA 本部や欧州の加盟各社が長年にわたり蓄積してきた医療経済評価についての重要な経験に基づき、HTAに関する議論に資するための意見を述べたいと思います。

まず背景として、日本の医療保険制度は以下のとおり日本の当局によって成功裡に発展してきていることを強調したいと思います。

- 収入や経済状況による制限なく、すべての人が医療にアクセスすることができる。
- 適切な訓練を受けた医療専門家による高品質な治療を適切な施設で受けることができる。
- さまざまなメカニズムで医療費増加を抑え、予算全体に占める医療費の割合が世界ランキングの上位を占めている。

さらに、最近試験的に導入された新しい薬価制度 (新薬創出加算制度) がすでに“ドラッグラグ”を解消しつつあります。

- 当局や専門家会議の要求による未承認薬や適応外使用は迅速に開発されている。
- ますます多くの新薬が日本や世界各国でほぼ同時に開発されている。
- 日本はますますイノベーションを評価する国として認知されるようになってきており、今後さらに製薬会社の投資を呼び込み、ひいては患者さんの利益が増大すると思われる。

しかしながら、人口統計学的な見地からは、現行の制度も若干の調整が必要であることが示唆されています。

- 高齢者の医療費は生産年齢人口の医療費の 4～5 倍である。
- 急速な高齢化は医療財源を圧迫し、現在の価格コントロールシステムでは吸収しきれない可能性がある。
- 高齢化の他に、予防の推進はさらなる財源が必要になる。

HTA に関する議論は特定の治療法のメリットをより確実に評価し、医療費関連財源の再配分の議論の場としての機会を供するものです。この議論は、医療費のおよそ 20%を占めているに過ぎない医薬品のみで限定されるのではなく、医療行為や医療機器にも適用されるべきと考えます。HTA は正しい方法と予想に基づいて選択的に実施されるのであれば患者のための付加価値につながる可能性があり、価格を抑制する新しい方法としてのみ導入されるべきではありません。

オーストラリア、カナダあるいはイギリスなどの様々な国で HTA が導入されてから、HTA は本来の意図とは違ったものになってきています。最近の傾向としては、英国や最近のドイツで見られるように HTA が価格決定のために使われていたり、革新的な新薬へのアクセスを制限するために使われたりして患者さんの懸念を増長しています。一方、欧州各国の中には、スウェーデンやスイスのように患者さんの革新的医薬品へのアクセス改善を目指す違うシステムへと変貌しつつある国もあります。

HTA を革新的医薬品の評価を促進するための一要素として捉えられるべきですが、これにはいくつかの条件があります。

- 日本では「類似薬効比較方式」やその他の形で HTA の側面はすでに現行の薬価のしくみに組み込まれており、これら現行システムは今後の新しいシステムの基礎となりうるものである。
- HTA はすべての医薬品に当てはめられるわけではない。特定の種類の医薬品や特定の医薬品分類のものに適用するべきである。
- HTA 導入によって医薬品承認や薬価収載に遅れが出てはならない。
- HTA の導入によって不要なコストや政府の官僚主義的な業務等の社会的負担が増えるようなことがあってはならない。それらは研究や患者さんの医薬品への迅速なアクセスのためにこそ使われるべきものである。
- HTA 導入は、製薬産業や行政において必要な機能を構築するために多くの努力や投資が求められるが、この点は軽視されるべきではない。
- HTA は実臨床の状況が反映されるべきである。日本は最も包括的な市販後調査を行っており、これらのデータは、エビデンスに基づいた HTA の検討のために使用できる可能性がある。
- HTA は、費用対効果を測る目的で用いられる場合は透明性をもって用いられるべきであり、日本の薬価システムにおける不透明要因になることがあってはならない。

いずれにしても、製薬産業を含めた関係者全員による徹底的な調査・研究を実施する必要があります。現行の日本の制度が既に HTA の要素を含んでいるということをしっかりと認識し、それが、今後の費用対効果のシステムづくりの基礎となるべきです。また、現行制度は、その妥当性と実用性が、限定されたパイロット試験的な検証にて確認されるまで変更すべきではありません。

EFPIA Japan の加盟各社は、HTA のこうした議論にとどまらず、価格のみの議論からより広く医療財源をどこに求めるのかという財源論へと移動していくことが急務であると考えます。我々は、患者さんのニーズを第一に考え、最も革新的な治療法へのアクセスを可能にするシステムをできる限り短期間に構築することが必要であると考えます。

以上

☆ お問い合わせ先:

EFPIA Japan 広報委員会委員長(ノバルティス ファーマ広報部)喜多 英人
TEL: 03-3797-8009

医薬品の価値とその評価を考える

2012年4月20日

民主党 医療・介護ワーキングチーム
ヒアリング

欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan)

- 世界にみるHTA*の定義・目的
- HTAに関する最近の見解
- HTA: 諸外国(欧州)の事例
- 日本におけるHTA導入
- HTAが患者に与える影響
- 欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)の考え方
 - HTAの議論で考慮すべきこと

* HTA (Health Technology Assessment)

欧州HTA機関のネットワーク機構の定義

EUnetHTA:

HTAは、医療技術の使用に関して、系統的に、透明性を担保しつつ、かつ偏りのない堅牢な方法により**医学的、社会的、経済的、そして倫理的問題**についての情報を集約する学際的プロセスである

HTAは、**患者中心の視点の下**に安全性・効果・医療政策の各構成要素を提供し、**最大の価値を求める事**を目的としている。このような政策的目標の下、HTAは必ず常に**研究結果と科学的方法論**に確実に基づいていなければならない

EUnetHTA: European Network for Health Technology Assessment

ステークホルダーの見解 (HTAi Policy Forum)

- **患者**: 受容できるリスクの下、**価値ある利益をもたらす新しい治療の開発と製品の素早い提供**を求め、また、**病状に適した治療を受けることができるか否か**について知りたい
- **医師**: 製品の実臨床での**効果とリスク**に関する情報を求め、**かつ患者に最も適した治療を施す自由度**を担保したい
- **政府**: 危害を及ぼす製品から国民を守り、**重要な医療ニーズを満たす製品へのアクセスを確保し、国民の医療ニーズを満たしコストに見合った価値を提供**できる医療制度を実現し、**医療関連産業の発展を促進**したい

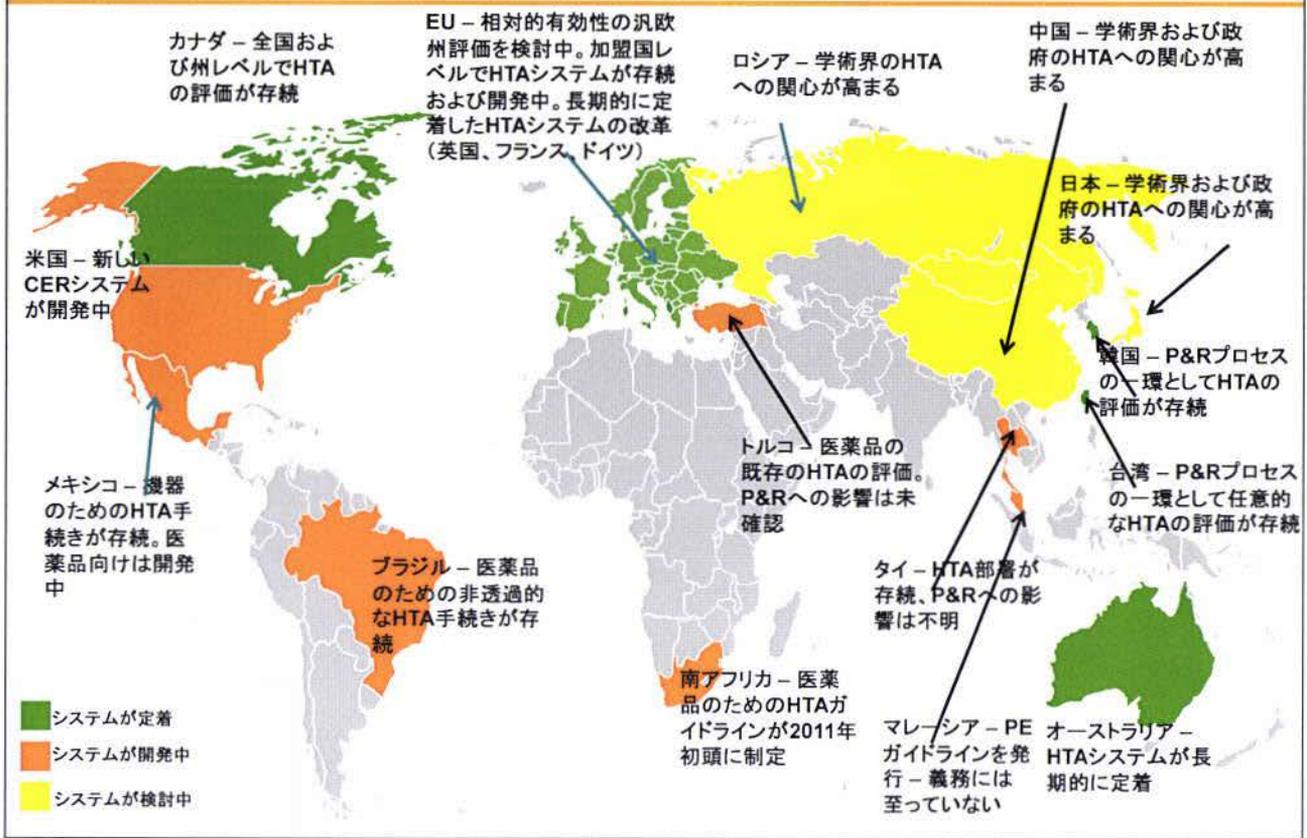
ステークホルダーの見解 (HTAi Policy Forum)

- 国民: 当局が確実に、責任を持ち、透明性を保ち、安定的にかつ効率よく、より良い新製品への迅速なアクセスを実現することを期待している
- 製薬企業: 安全で有効かつ利益をもたらす製品の開発と発売を目指す。薬事承認および保険償還を支えるエビデンスを構築する必要がある。そのため、エビデンスについて必要とされる事項の明確化と予見性、可能な限りの効率化を期待する。それらなしには、新薬の開発が極めて困難となりコストが上昇せざるを得ないと認識している

Henshall, et al. International Journal of Technology Assessment in Health Care, 27:3 2011 (253-260)

HTAに対する意識の変化

- 単に費用対効果の評価を行い、それを保険償還の決定や薬価のコントロールに反映するという単純な技術論的な観点から、患者に最適な医療を素早くかつ効率よく提供し、トータルとしての医療の質をどのように上げるべきかという総合的な観点に変化してきており、高度な医療政策の在り方の議論となっている
- こうした議論をより良い方向に導くためには、重要なステークホルダーの議論への参加、および貢献が不可欠であるという認識が普遍的な見方になってきている (例: スイスにおけるHTA導入のプロセス)



各国のHTAの現状

厳格に実行中						
基盤整備中						
議論開始						
静観						

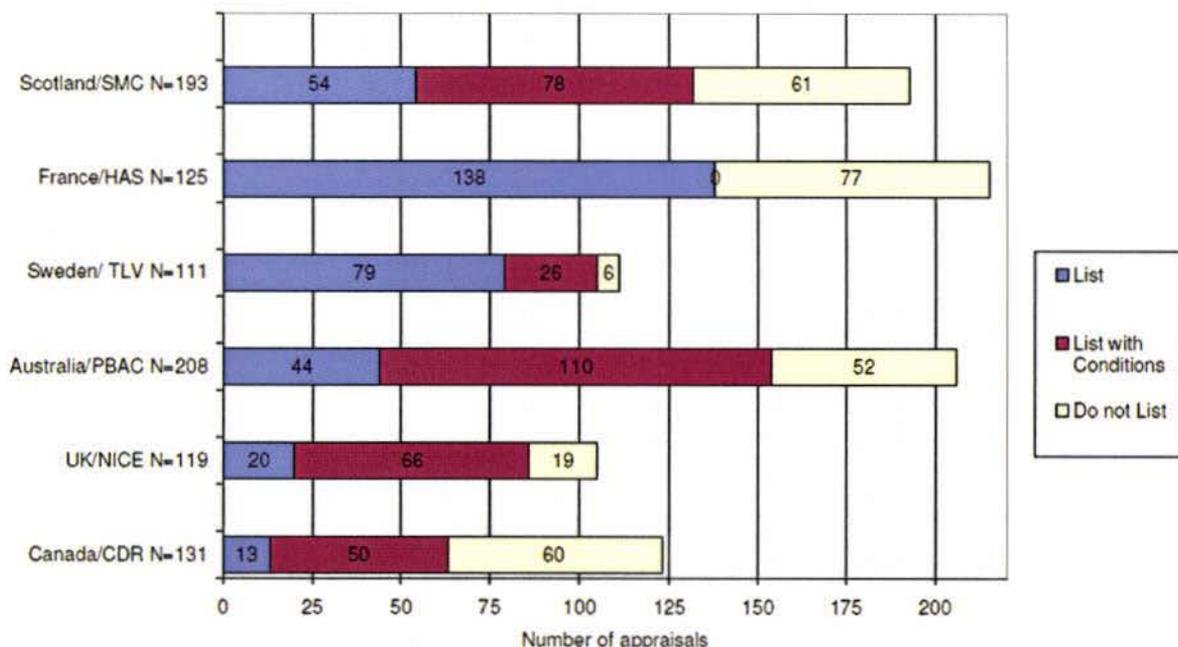
NICEの人員と予算

- 2010年度の予算額は職員数500人、総支出7,000万ポンド、年々増加

最近の新しい動き

- 特に抗がん剤で否定的な評価結果が示されたことを受け、2008年前後からアクセスの悪化に反発した患者団体などが大規模なデモ行進に発展した。
- これを受けて保健省は、補完・救済するための政策を導入
 - Patient Access Scheme (2009年1月～)
 - 医薬品へのアクセスを改善するため、価格を変えずに薬剤費の一部を製薬企業が肩代りする等
 - Cancer Drug Fund (2010年10月～)
 - NICEが推奨しなかった抗がん剤の使用に対し、公費により費用負担(2億£/Y)
 - End of Life Medicines (2008年11月～)
 - 終末期患者の生存を延長し得る医薬品の評価に一定の配慮

当局による評価とその結果



Tim Wilsdon and Amy Serota, A comparative analysis of the role and impact of Health Technology Assessment (Charles River Associates) May 2011

日本の医療の現状

- 日本の医療の優れた点
 - フルカバー・フリーアクセスの国民皆保険
 - 良好な医療の質
 - 対GDPにおける医療費の割合が低い
 - 医薬品は、承認から薬価収載までが早い
- 新しい薬価制度(新薬創出等加算の成果)
 - 多くの新薬の臨床試験が世界同時に開発されつつある。
 - 未承認薬や適応外使用は迅速に開発されつつある。
 - 日本は新薬開発に向けてイノベーションの評価を促進する方向に舵とりをしているとグローバル製薬会社は考えている。

- 日本の医療は、国民皆保険・フルカバー・フリーアクセスという特徴的な制度のもと、高齢化にもかかわらず医療費は低水準に維持されている。一方、WHO等の国際評価において世界一と評価されており、効率的に良質な医療が提供されている。

高齢化にもかかわらず低水準の日本の総医療費

高齢化によって医療需要は高まり、必然的に医療費も増大する。しかしながら、国際的に見て、日本は高齢化が最も進んでいるにもかかわらず、これまでの医療費の水準は低く、医療への財源投入が過少である。医療費の伸びが低く抑えられたままでは、医療の質や国民の健康に対する悪影響が懸念される。

低い医療費水準のなかでも、世界一の日本の医療

WHO Health Report 2000 で総合1位となった日本の保健医療は、低い医療費水準が続く一方で、OECD Health Data 2009に基づく国際評価でも1位を獲得している。

REPORT CARD		Health Indicators										
Health	Life expectancy at birth (years)	Self-reported health status (days)	Prevalence of disability (percentage)	Mortality due to cardiovascular diseases (per 100,000)	Mortality due to cancer (per 100,000)	Mortality due to stroke (per 100,000)	Mortality due to chronic obstructive pulmonary disease (per 100,000)	Mortality due to diabetes (per 100,000)	Mortality due to Alzheimer's disease (per 100,000)	Mortality due to mental disorders (per 100,000)	Mortality due to medical error (per 100,000)	Mortality due to road traffic accidents (per 100,000)
1. Japan	82.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
2. Switzerland	82.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
3. Italy	81.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
4. Norway	81.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
5. Sweden	80.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
6. Spain	80.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
7. Finland	79.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
8. Germany	79.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
9. Australia	78.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
10. Canada	78.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
11. Netherlands	77.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
12. Korea	77.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
13. France	76.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
14. U.K.	76.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
15. Denmark	75.5	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
16. U.S.	75.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0	10.0
▲ 総合評価												
▲ 個別指標の評価												

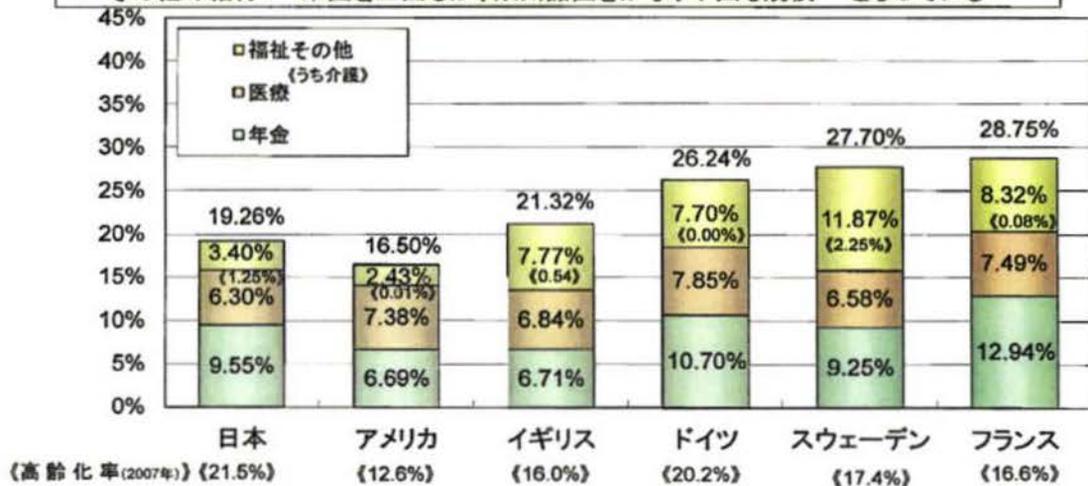


2011年6月22日中医協総会
2号側委員提出「わが国の医療についての基本資料」より

efpia* 日本の医療費は、先進国中で対GDP比最低

社会保障給付の部門別の国際的な比較(対GDP比)

- 我が国の社会保障給付の規模を部門別に比較すると、
- ・ 年金 — 米英を上回るが、他の欧州諸国をやや下回る規模
 - ・ 医療 — 米国や欧州諸国を下回る規模
 - ・ その他の給付 — 米国を上回るが、欧州諸国をかなり下回る規模 となっている

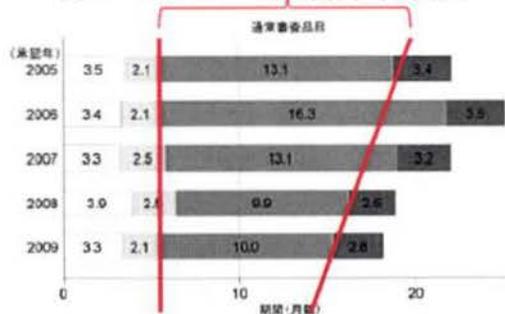


(注) OECD: "Social Expenditure Database"等に基づき、厚生労働省政策統括官付社会保障担当参事官室で算出したもの、いずれも2007年。
 OECD社会支出基準に基づく社会支出データを用いているため、社会保障給付費よりも広い範囲の費用(公的住宅費用、施設整備費等)も計上されている。
 高齢化率は OECD: "OECD in figures 2009")

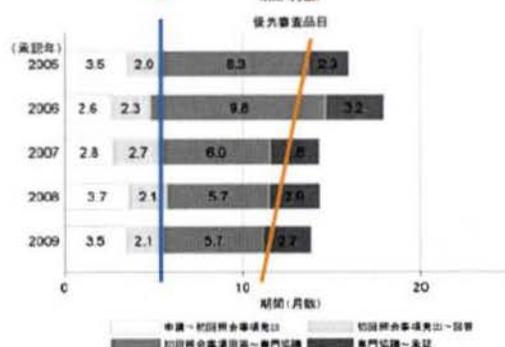
efpia* PMDAにおける承認審査期間が短縮された

図3 プロセスごとの期間(中央値)

通常審査品目

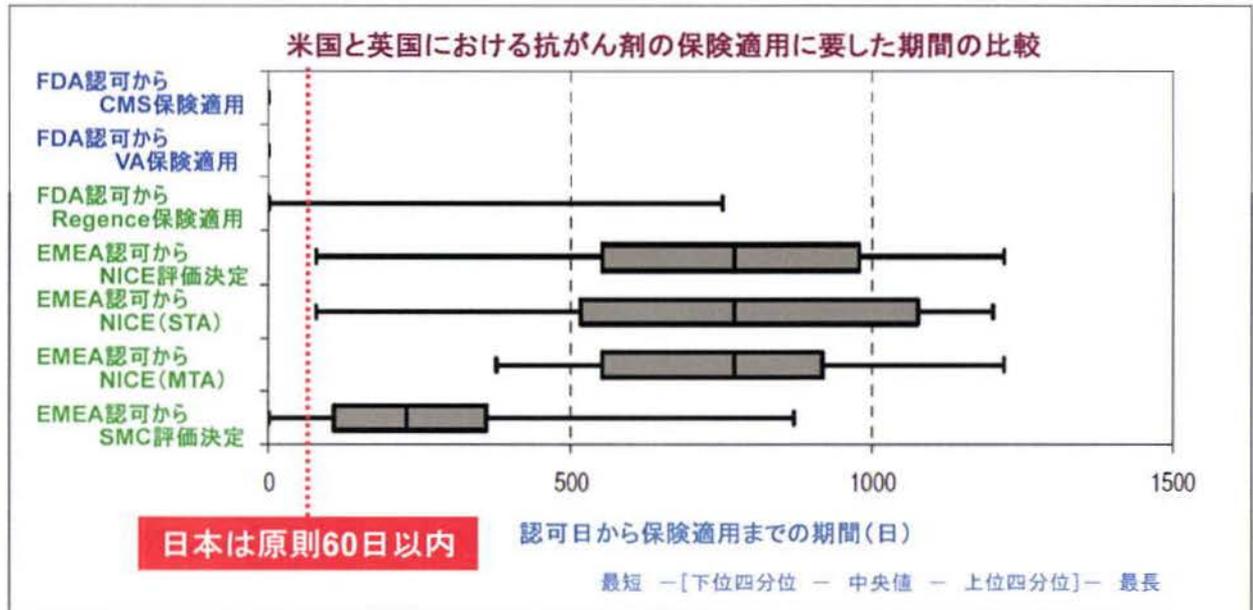


優先審査品目



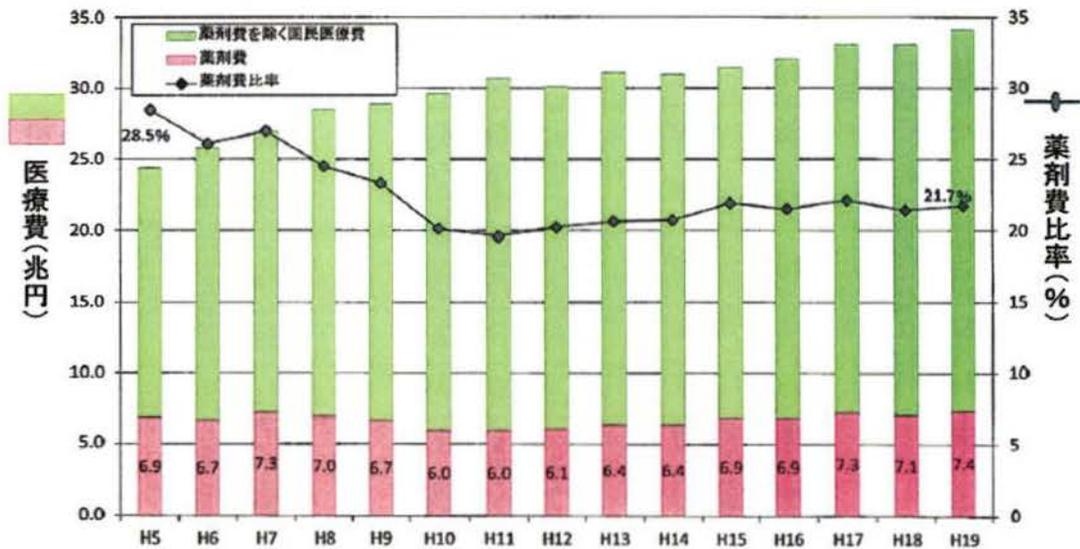
注: 各プロセスの中央値を積み上げており、その合計は図2の中央値とは異なる。

- 日本において新医薬品は製造販売承認後、原則60日以内遅くとも90日以内には保険適用されている。費用対効果分析を保険償還や価格設定に活用している国と比較し、承認後、保険償還までの期間は短く、患者の新薬へのアクセスは良好である。



- 医薬品に限定されるべきではない
 - 医薬品は医療費全体の20%
 - 医療技術や医療機器(の分野)
 - 医薬品の中でもなじまないものもある
- 医薬品承認や薬価収載が遅れることは避けるべき
- 既存の日本のシステムには既にHTA的な側面が含まれている
 - 現行の薬価制度、特に類似薬効比較方式は既存薬(比較薬)と新薬の比較に従って価格を決める。
 - 有用性加算等の制度を考えると既に実質的な技術評価が行われていると考えられる
- HTAを導入することそのものの費用対効果も考慮すべき
 - データ構築などによる企業負担の増加、社会的コスト(ヒト、モノ、カネ、時間)

国民医療費と薬剤費の関係



医療イノベーション

- 医療・介護分野は、大きな潜在需要に応じていくことで雇用を生み、経済成長につながる成長産業です。
- 日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出により、健康長寿社会を実現するとともに、国際競争力強化による経済成長に貢献することを目指す「医療イノベーション」を推進します。

- 国際水準での臨床研究を実施する拠点の創設
- 薬事承認審査等の迅速化・高度化等の促進
- 保険償還価格におけるイノベーションの評価等

日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出により、健康長寿社会を実現し、国際競争力強化と経済成長に貢献

※ 「医療イノベーション」とは、医薬品・医療機器や再生医療をはじめとする最先端の医療技術等の実用化等を意味。

主な改革検討項目

- 国際水準の臨床研究実施により、日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出等の拠点となる、臨床研究中核病院(仮称)等の創設
- 独立行政法人医薬品医療機器総合機構の体制強化や、審査等の迅速化・高度化等の促進
- 保険償還価格の設定における医療経済的な観点を踏まえたイノベーションの評価等のさらなる検討



- 国民皆保険制度の下、医療アクセスに対する高い期待
- 承認後の新薬について、HTAによってアクセスが遅れたり、制限されることが受け入れられるか
- 評価の質をどう担保するか
- 費用対効果に関する数字を用いて医薬品へのアクセスを判断することが受け入れられるか
- オーフアンドラッグや抗がん剤へのアクセスが経済学的評価によって判断されることが受け入れられるか

- ✓ 日本の医療の優れた面を阻害しないか
- ✓ 他国の好ましくない現状の分析
- ✓ 多くの関係者で「日本のHTA」についての国民的議論が必要
- ✓ 導入の範囲について
- ✓ 新しい制度導入自体の費用対効果

- 医療は、全ての国民の大きな関心事です。費用対効果の議論には、国民的議論が必要であり、多くの関係者が「日本において適切なHTAは何か」を真剣に議論する必要があります。
- EFPIAは、欧州での多くの知見を蓄積しています。各国の報告、専門家の意見、患者の立場からの見解などの情報提供により、今後の議論に貢献できます。
- HTAの課題を扱う委員会(医療経済評価委員会)も設立いたしました。(2012年3月)
- 今後も建設的な議論を続けさせていただきたいと考えています。

日本における「医療技術等の評価」に関する PhRMA の提言

1. 「医療技術等*の評価」とは

「医療技術等の評価」(Health Technology Assessment: HTA) とは、すべての患者に最大限の治療効果をもたらす最適な意思決定が行えるよう、様々な治療オプションの価値を、科学的、経済的、社会・倫理的側面を含めて総合的に評価するアプローチを指す。加えて、患者にとっての治療オプションのイノベーションを奨励し、最終的にはより質の高い医療システムの構築に資することを企図したものである。

※本稿において、「医療技術等」には、医療技術(手技等)、医薬品、医療機器の全てを含むものとする。

2. 日本における「医療技術等の評価」と、さらなる改善の余地

日本において、「医療技術等の評価」は、患者のアクセスに悪影響を与えることなく、既に、保険償還や価格決定のシステムに長年にわたって内包されてきている。具体的には、治療オプションの価値を、有効性や安全性、社会的・倫理的便益といった幅広い基準に基づいて評価する形のシステムが構築されているところである。

その一方、こうしたシステムは確かに存在するものの、治療オプションを的確に評価し、イノベーションに報いていくためには、さらなる改善の余地が存在することも事実である。

3. 海外の「医療技術等の評価」からの教訓

「医療技術等の評価」は、異なる医療システムのもと、異なる課題を抱える様々な国によって導入され発展してきた。しかしながら、どれ一つとして単一で成功例とみなせる国はなく、いずれの国においても、革新的な治療オプションへの患者のアクセスを制限させたり、遅延させたり、あるいはイノベーション自体を抑制してしまうなどの副作用に直面している。

日本において「医療技術等の評価」の仕組みを改善するに当たっては、海外の先行事例から十分に教訓を得た上で進めるべきである。

4. 日本における「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たって遵守されるべき

基本原則

患者ニーズに合致し、国民の健康状態の向上に資する医療の改善を継続的に支えるために、日本における現在の「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たって遵守すべき 4 つの基本方針と、9 つの基本原則を提案したい。

- 1) 患者の様々な治療オプションへのアクセスが引き続き維持されるべきこと
- 2) 治療オプションの価値の評価は適切かつ包括的に行われるべきこと
- 3) 官民それぞれにおける追加的な負荷は最小限にとどめるべきこと
- 4) イノベーションが十分に評価されるべきこと

1) 患者の様々な治療オプションへのアクセスが引き続き維持されるべきこと

1a) 承認後の広範な保険償還の維持

- ・日本では国民皆保険制度が確立されており、安全性と有効性が確認された治療オプションについては、ほぼその全てが保険償還の対象となるため、医師や患者にとっての治療選択の自由度は高い。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たり、医師や患者が最適な治療法を選択するための選択肢を狭めるようなことがあってはならない。

1b) 承認後の迅速な保険償還の維持

- ・日本の医療制度／医療保険制度においては、安全性と有効性が確認された治療オプションについては、基本的に当該申請に用いたデータのみをもって、迅速に保険償還の対象とされる。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たり、保険償還のための過大な追加データの提出を求めたり、当該データの評価に長い時間をかけたりすることは、患者の新たな治療オプションへのアクセスを遅らせる危険性が高く、慎重であるべきである。

2) 治療オプションの価値の評価は適切かつ包括的に行われるべきこと

2a) 治療オプションの広範な便益のより明確な考慮

- ・日本の医療保険制度においては、保険償還の可否や償還価格の決定において、有効性や安全性、社会的・倫理的便益を含む幅広い定性的基準や定量的基準が用いられているが、それぞれの基準による評価がどのように判断結果に結びついているのかは必ずしも明確でない。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、治療オプションの広範な便益についてより明確に考慮するようにならなければならない。各治療オプションのアウトカムの評価に当たっては、単に患者の直接的便益のみならず、必要に応じて、患者のQOL、患者を取り巻く家族や雇用者にとっての便益、患者の機能回復やそれによる経済的生産性の回復といった患者や社会にとって重要な間接的便益をも含めて行うべきである。なお、医療経済評価は、「医療技術等の評価」全体のある一面に過ぎないものであり、当該治療オプションが患者や社会にもたらす幅広い便益を考えると、これのみを過大に取り上げることは適切でない。特に、対象患者数は少ないものの、当該患者にとっての命綱となるような社会的必要性の高い治療オプションに対する医療経済評価の適用については、十分に慎重であるべきである。

2b) 適切な評価手法や評価基準の採択

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」の仕組みにおいて、医療技術、薬剤、材料の3つの領域それぞれについて有効性や安全性の確認のための評価手法や評価基準があり、さらに、償還価格や加算の決定においては、一定の経済的評価も行われているところである。
- ・今般、厚生労働省から「費用対効果を勘案した医療技術等の評価」の検討に着手する旨が公表されたところであるが、治療オプションによって最適な評価手法や評価基準は当然ながら異なってくるものであり、各治療オプションに最も相応しい評価手法や評価基準が選択されるべきである。Cost / QALYのような単一の指標を用いて画一的に閾値を当てはめることにより償還／非償還を機械的に決定するような仕組みは、患者にもたらされる様々な価値を取りこぼす恐れがあることから、断じて避けるべきである。

2c) 高い専門性を持った人材の育成および適切なデータベースの整備

- ・十分なエビデンスに基づいた「医療技術等の評価」を行うためには、適切な臨床データや疫学データの活用が不可欠であるが、日本は他の先進諸国に比して疫学データベースや当該疾病の治療に要した医療費のデータベースの整備が不十分であり、また、こうしたデータの収集や分析に長けた専門性の高い人材の育成も十分には行われてきていない。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に先立ち、こうしたデータを適切に扱える専門性の高い人材の育成や、利用可能な疫学データベースや医療費データベースの整備に対して長期的視点に立った十分な投資を行うことが不可欠である。

2d) 評価手法やプロセス、結果に関する高い透明性の確保

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」では、情報開示や幅広い関係者の関与の度合いという意味において、評価の手法やプロセス、評価結果について十分に透明性が確保されているとは必ずしも言えない。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、評価の手法やプロセス、評価結果に関する高い透明性が確保されるべきである。とりわけ、評価手法や評価基準については、幅広い関係者の参画によって透明な形で策定されるべきであり、また、判断のプロセスや評価結果はきちんと開示され、不服申し立ての機会も与えられるべきである。

3) 官民それぞれにおける追加的な負荷は最小限にとどめるべきこと

3a) 追加的に求められるデータ収集コストの極小化

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」においては、主として治験時のデータが使用されており、追加的なデータの提出要求は極めて限定的である。事業者は、保険償還における加算を取得したい場合にのみ、自発的に追加的なデータを収集すればよい状況にある。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たり、追加的なデータ収集が求められるとしても、以下のような点に留意することで、データ収集の負荷は適切な水準に留められるべきである。

第一に、「医療技術等の評価」の対象となる治療オプションは、患者への医療サービスがどの程度改善されるのか、その期待される効果の程度を勘案して、慎重に選択されるべきである。また、「医療技術等の評価」には、上市後の実臨床において無理なく収集できるデータが使用されるべきであり、上市時において追加の臨床試験データの収集が強いられるべきでない。さらに、早い段階で当局と事業者の間で協議を行い、要求されるデータについてのコンセンサスを得ることで、双方の負荷を減らすべきである。

3b) 追加的な事務コストや事務組織の極小化

- ・日本における「医療技術等の評価」は、長年にわたり、厚生労働省が外部の専門家構成される審議会を活用する形で実施、運用されてきた。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、社会的に追加の負担となるような不必要な事務コストの発生は避けられるべきであり、現在の実施・運用体制を最大限活用することで対処されるべきである。

4) イノベーションが十分に評価されるべきこと

4a) 革新的な治療オプションに対する高い経済的価値の付与の確保

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」では、革新的な治療オプションに対して高い経済的価値を付与するための各種加算制度が存在するものの、その評価は限定的であり、十分に機能しているとは言い難い。さらに、医薬品には、イノベーションの程度に関わらず、価格を強制的に切り下げる市場拡大再算定の仕組みも存在する。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みを改善するのであれば、市場拡大再算定の対象品目について、それらの品目が患者にもたらす価値を適切に評価できるようにすべきである。また同時に、患者への治療の質向上のために革新的な治療オプションの開発が継続的に行われるよう、革新的な治療オプションが十分に評価され、高い経済的価値が付与、維持されるような配慮が必要である。

ヘルスケアフレームワーク「医療政策の基本的な考え方」
～日本における医療分野への投資に関するPhRMAの見解～

1. 日本における国民の健康水準の現状

日本は、これまで国民の健康水準を測る主たる指標において、世界最高水準の実績を誇ってきている（平均寿命、乳幼児死亡率、早期死亡率、がんや糖尿病等の主要な病気による死亡率等）。また、この高い健康水準が、他国と比較して相対的に低い医療費で実現されている点は、特筆に値する。2010年の対GDP比医療費は9.5%と推計され、引き続きG7諸国中最も低い水準を維持している。

2. 潜在的な健康水準の悪化リスク

一方、将来的には、社会・経済が悪循環に陥ることによって、いくつかのリスク要因が顕在化し、現在の健康水準が悪化する可能性がある

- 経済の停滞や財政赤字の累積により、医療費を含む社会保障費に十分な資金が配分されないリスクがあり、これにより医療サービス、ひいては国民の健康水準が悪化する可能性がある
- 実際に国民の健康水準が悪化した場合、高齢化とも相俟って、欠勤や就業不能により我が国全体の労働生産性が低下することが想定され、これが経済全体の更なる停滞に繋がり、結果として、日本の社会・経済にとっての悪循環を生み出す可能性がある

3. 医療分野への投資による国民の健康向上と経済成長の実現

医療分野への投資には、国民の健康向上と経済全体の成長を促進し、悪循環のリスクを好循環に変えていく効果が期待できる。

まず、医療分野への投資によって、革新的な治療オプションの開発が促進されることが挙げられる。革新的な治療オプションは、以下に詳述するように、病気を予防・治療することを通じて直接的に国民の健康水準を高め、結果として、経済成長に貢献する

- 革新的な治療オプションは、個々の患者の症状を大きく改善し、また、寿命を延ばすことを通じて、国全体の健康水準の向上に貢献する。52カ国を対象に行われたある調査では、寿命の延びの40%が新薬の開発に依るものという結果が出されている。
- 健康水準の向上は、結果として、以下の意味で経済成長に貢献する。
第一に、より多くの国民がより健康になることで、労働人口として貢献する期間が延びるとともに、欠勤や就業不全の改善により労働生産性が向上する。さらには、健康な国民が増えることで、個人消費の底上げも期待できる。現状、病気による経済損失は膨大であるため、この底上げ効果によるマクロ経済へのインパクトは極めて大きいと考えられる。イギリスの例を取ると、慢性疾患による経済損失は

2015年にGDPの5.1%にまで達すると予想されている。

加えて、患者の症状が改善され、追加的な治療が減ることによって、医療費の節約に繋がることが考えられる。これは、財政収支全体の改善に貢献しうるものであり、結果として経済成長にも寄与する。米国のある研究では、アルツハイマー病の発症を5年間遅らせる治療が開発された場合、2030年には1,400億ドルの医療費支出(Medicare/Medicaid)が節約されると推計されている。

上記に加えて、医療分野への投資は、以下に掲げるような間接的なインパクトを日本経済全般に与えるとも考えられる。

- 医療分野への投資は、他産業に比して、より多くの雇用を生み出す
(2009-10年には、日本全体の雇用者数が35万人減少する中、ヘルスケア分野だけで24万人の新規雇用を創出)
- 医療分野での生産拡大による川上・川下の様々な関連産業への経済波及効果は、他産業に比較してより大きい
(経済波及効果指数は、政府支出が大きい分野の中では最も高く(1.87)、全産業平均(1.65)を上回る水準)
- 医療分野への投資により革新的な治療オプションが開発されれば、原材料又は最終製品という形でグローバル市場への輸出が可能となり、日本に多大な経済的利益をもたらす
(日本発で、大きな海外売上高を占める画期的新薬の実績は数多く存在)
- 日本における更なる臨床試験の実施を含め、医療分野への膨大なR&D投資は、直接投資として経済促進効果をもたらす
(医薬品産業のみで、日本のR&D全体の10%以上)

上述のように、医療分野への投資による直接的・間接的な経済効果が組み合わさることで、潜在的なリスク要因が克服され、高い健康水準と経済成長を牽引する好循環が生まれることが期待される。