

今後の議論の進め方

1. 前回までの検討

- 平成24年6月27日の本部会（第2回）において、「関係者にとって基本的な理解が得られるような運用の考え方(下記「2.(1)制度の基本的考え方」)をまず確認した上で、それを前提とした更なる具体的な論点（「2.(2)具体的な評価の運用手法」）について検討整理する、という段階的な（確認を重ねながら）検討を行う」とこととされた。
- 前回（平成24年7月18日）の本部会（第3回）において、「制度の基本的考え方(下記2.(1))」について確認を行った。

平成24年6月27日 費-3 より抜粋

2. 当面の検討事項

(1) 制度の基本的考え方

- ① 対象技術の原則
- ② 結果活用の原則

(2) 具体的な評価の運用手法

① 評価手法

- 1) 費用の範囲や取り扱い
- 2) 効果指標の取り扱い
- 3) 比較対照のあり方
- 4) データの取扱い 等

② 具体的な評価の活用手法

- 1) 価格評価における評価の反映手法
- 2) 保険収載時における評価の反映手法 等

2. 今後の進め方

- 「具体的な評価の運用手法（前頁2.（2）」の検討については、関係者からのヒアリング等を含め、概ね4回程度で行ってはどうか。

（検討スケジュール）

- ① 評価手法（概ね2回程度）
- ② 具体的な評価の活手法（概ね2回程度）

3. 今回の検討

- 今回の検討においては、このうち、「① 評価手法 2) 効果指標の取り扱い（前頁2.（2）」について、具体的な論点を提示し、検討を行うこととしてはどうか。

効果指標の取り扱いについて

1. 検討の背景

- 幅広い医療技術を効果という視点で評価できる指標について検討することから、様々な観点からの検討が必要である。

(例えば、従来の医療保険制度における価格評価は、類似する医療技術との比較又は当該技術に関する原価計算方式が基本とされてきたが、仮に費用対効果評価を考慮するとした際に、類似技術との比較のみならず、異なる治療方法や疾患分野との比較等、横断的で幅広い評価を行うこと等についての検討)

- 諸外国の先行事例では、評価手法を定めたガイドライン等において、殆どの国が効果指標として質調整生存年 (QALY) を採用している。しかし、QALY の具体的な活用方法については、必須とする、推奨する、選択肢の一つとする等、国により取り扱いが異なっている。
- QALY 以外の効果指標についても、考え方や使用可能な指標が国により異なっており、国際標準となる唯一の指標があるわけではない。
- このような諸外国における先行事例の特徴や課題等を踏まえ、我が国の費用対効果評価における効果指標の取り扱いについて、慎重な検討を行う必要がある。

2. 効果指標のあり方（案）

（1）基本的考え方

- 医療技術の多様性（対象疾患や治療方法等の多様性）に対応可能なよう、一定の普遍性を有するとともに、比較可能性等に留意した評価指標を用いることが求められる。
- 更に、分析結果の評価を明確なものとするよう、評価の実施に当たっては、原則として単一の指標を予め設定して実施することが求められる。（必要があれば、単一の指標による評価を補う手法についての検討も求められる。）

（2）効果指標について

（1）の基本的考え方を踏まえ、効果指標は、具体的には下記の①～④のような特徴を持つものであることが望ましいと考えられる。

- ① 当該医療技術がもたらす効果（健康アウトカム）を包括しているものであること。（医療技術の効果の一部ではなく、全体を評価する指標であること。）
- ② 定量的で再現性・透明性が高い（定義が明確である等）指標であること。
- ③ 既存技術等との比較が可能であること。
- ④ 臨床試験等の実績（エビデンス）に基づいた算出が可能である指標であること。

3. 効果指標の具体例について

(1) 生存期間に関連する指標

A. 生存年

① 概要

- 生存年の延長を効果指標とする。

② 利点及び欠点

- 致命的な疾患においては、確立された指標と言え、諸外国でも幅広く利用されている。
- 致命的な疾患同士での比較においては、疾患に依存しない。(異なる疾患間での比較が可能)
- 臨床試験等での指標を活用可能である。
- QOL が考慮されない。(包括的な評価とならない可能性がある)
- データの収集が困難な場合がある。

B. 質調整生存年 (QALY)

① 概要

- 生存年と生活の質(QOL)の双方を考慮する。
- QOL については、1 を完全な健康、0 を死亡とする「効用値」を用いる。

(ある健康状態での QALY = 【効用値】 × 【生存年数】)

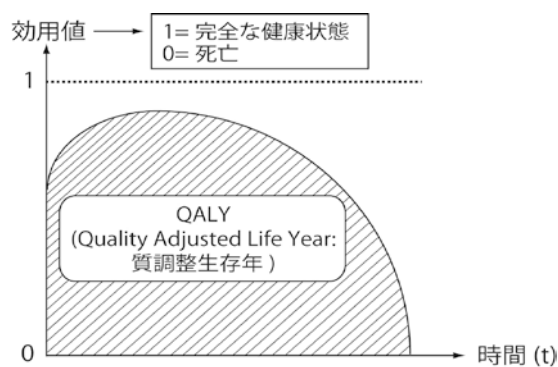


図1 QALY の概念

② 利点及び欠点

- 疾患に依存しない。(異なる疾患間での比較が可能)
- 生存年及びQOLの評価が可能である。(包括的な評価が可能)
- QOLの定量的な評価が可能である。
- 諸外国で幅広く利用されており、既に一定の運用実績がある。更に、海外事例(データ)の活用も考慮可能である。
- データの収集が困難な場合がある。
- データの収集や分析に多くの労力を要する。

(2) 治癒(治療目的達成)率

① 概要

- 疾患毎に定められた「治癒(治療目的)」の定義を達成した割合を指標とする。

② 利点及び欠点

- 疾患等に応じた指標が利用可能である。
- 臨床試験等での指標を活用可能である。
- 疾患によって、「治癒(治療目的)」への健康アウトカムの反映の程度に幅がある。(包括的な評価とならない可能性がある。)
- 疾患によって「治癒」の定義が異なるため、再現性、透明性等の程度に幅がある。
- 異なる指標間での比較が困難である。
- 判断基準を個々の疾患に応じて設ける必要がある。

(3) 臨床検査値

① 概要

当該技術の対象疾患の状態を表す指標を用いる。(例えば、糖尿病におけるHbA1C等)

② 利点及び欠点

- 疾患等に応じた指標が利用可能である。
- データの入手が容易である。(臨床試験等での指標も活用可能)
- 異なる指標間での比較が困難である。
- 当該医療技術がもたらす効果を包括しているとは限らない。
- 判断基準を個々の指標に応じて設ける必要がある。

4. 単一の効果指標による評価と複数の効果指標による評価

① 概要

- 費用対効果評価の一般的な考え方として、単一の効果指標による評価が望ましいとされている。

- 一方で、「2. 効果指標の在り方(案)」等を踏まえ、単一の(主たる)効果指標による評価を行いながらも、補足する指標として他の指標を使用するという観点も重要であるという指摘がある。

② 単一の効果指標による評価と複数の効果指標による評価の利点及び欠点はそれぞれ以下のとおり

単一の効果指標	複数の評価指標
評価できる効果の範囲が狭まる	幅広い範囲の効果の評価できる
解釈が容易	解釈が困難

5. 諸外国の状況

- 下記のいずれの国においても、医療技術の費用対効果評価の手法について定めたガイドラインが存在し、その中で効果指標についても定めがある。

(1) イギリス

様々な疾患領域や治療法の評価を比較するために、効果指標を QALY に統一する。

※ 例外的に QALY 以外の効果指標を併用している例

Life Extending, End of Life Treatments

- ・ 生存年の延長が既存技術に比較して3ヶ月以上ある場合、QALY による評価の基準を緩和する。
- ・ 平均余命が短く、(通常2年以内)、対象患者が少ない疾患が対象。

(2) ドイツ

QALY に限定せずに、疾病や治療法に応じた指標を用いる。

(3) フランス

QALY を用いてもよい。

(4) オーストラリア

QALY を用いてもよい。ただし、医薬品の評価の場合であって、有効性及び安全性のうち、一方が改善し、もう一方が低下する場合は、QALY による評価が望ましい。

(2005-2009年の評価結果では約6割がQALYを用いた評価)

6. 具体的な論点

- 幅広い医療技術を効果という視点で評価できる指標について検討が必要であることを踏まえ、「2. 効果指標のあり方（案）」について、どのように考えるか。
- 様々な効果指標について、それぞれの利点・欠点や諸外国の状況を踏まえた検討を行う必要があるが、特に下記のような観点をどのように考えるか。
 - 可能な限り単一の指標を用いて、当該技術の効果を包括的に評価することが求められること。（例えば、改善する要素と低下する要素が混在している技術の場合でも評価が可能である等）
 - 包括的な単一の指標による評価においては、当該疾患において重要となる効果（例えば、余命が短い疾患における生存年の延長等）に焦点を当てた評価が困難な可能性があるため、補足的に指標を組み合わせる事。
 - 既存技術等との比較や異なる疾患間での比較可能性。（既存技術の評価指標と当該評価対象技術の評価指標が同一又は比較可能であることが望ましい等）