

特集：データに基づく保健医療の計画と展開

<総説>

医薬品・医療機器の費用対効果評価の試行的導入

福田敬

国立保健医療科学院医療・福祉サービス研究部

Pilot program of cost effectiveness evaluation of pharmaceuticals and medical devices in Japan

Takashi FUKUDA

Department of Health and Welfare Service, National Institute of Public Health

抄録

日本の国民医療費は2013年度に40兆円を超え、増加を続けている。その理由の一つには高齢化が挙げられるが、これと同等またはそれ以上に関連していると考えられるのが、新規医療技術や医薬品等の導入による医療の高度化である。医療技術の進歩は、生存年数の延長やQOL (Quality of Life) の向上など患者や国民に多くのメリットをもたらしているが、一方で医療費の増加に寄与している。諸外国においては、イギリスのように、医療技術や医薬品等の費用対効果の評価を行い、公的医療保障制度でカバーする技術の範囲や償還価格の設定等に反映している国もある。

日本でも中央社会保険医療協議会（中医協）において、2012年に費用対効果評価専門部会が設置され、費用対効果の評価対象とする技術等の選定方法、評価手法、評価結果の活用方法等について議論されてきている。2016年4月からは医薬品・医療機器について費用対効果評価の試行的導入が開始された。この試行的導入では、評価に時間がかかることにより保険取載が遅れるようなことがないように、これから承認される新規の医薬品や医療機器ではなく既取載品目の中から条件に沿って選定した品目を対象としている。また、評価結果を保険取載の可否ではなく、償還価格の調整に利用する方針となっている。

評価プロセスとしては、まず対象品目の製造販売業者が分析ガイドラインに沿って費用効果分析を実施してデータを提出し、これに対して、公的な専門体制により中立的な立場から再分析を実施する。これらの分析結果は、中医協の下に新たに設置された「費用対効果評価専門組織」に報告され、ここで専門的な見地から総合的な評価が行われる。評価結果に基づき価格調整がなされる予定である。また今後は高額な医療機器を用いる医療技術の評価なども評価対象となっていくものと想定される。

医療技術や医薬品等の費用対効果の評価とその応用は、技術進歩と医療費支出のバランスを保ち、国民皆保険制度を維持するためにも必要とされるものであり、重要なのはこのような評価が適切な手法やデータに基づいて実施されることである。

キーワード：医療経済評価、医療技術評価、費用効果分析、医療保険制度

連絡先：福田敬
〒351-0197 埼玉県和光市南2-3-6
2-3-6, Minami, Wako, Saitama, 351-0197 Japan.
Tel:048-458-6285
E-mail: fukuda.t.aa@niph.go.jp
[平成29年2月21日受理]

Abstract

Annual medical expenditure in Japan reached 40,000 billion yen in 2013 and have been increasing. One reason for the increase is population aging. However, another big reason would be technology advancement including new medical procedures and pharmaceuticals. Those new technologies contribute to people's health by prolonging life expectancy and improving quality of life, though it may require more expenditure. In some countries like England, coverage decisions and reimbursement pricing are made upon the cost effectiveness evaluation for procedures or pharmaceuticals under publicly funded health care system.

In Japan, a new subcommittee on cost effectiveness evaluation was established under the Central Social Insurance Medical Council in 2012. Many issues such as selection criteria of the target technologies, methods of evaluation, and use of evaluation results have been discussed in the subcommittee. Based on such a discussion, a pilot program of cost effectiveness evaluation of pharmaceuticals and medical devices started from April 2016. In the pilot program, some of the existing products, not new products, are selected for evaluation in order to avoid any delay for insurance coverage. The results of evaluation will be used to adjust reimbursement prices.

In the pilot program, manufacturers of the selected products submit primary analyses and data of cost effectiveness according to the analytical guideline. The analyses are reviewed, and re-analysed if necessary, by a public organization in collaboration with external specialists. Both analyses are reported to the Special Organization for Cost Effectiveness, a new organization for appraising the results. Finally the results will be used for adjustment of reimbursement prices in the next price revision. In the near future, medical procedures with advanced equipment will be also evaluated.

Cost effectiveness evaluation of new health technologies would be essential to keep balance between technology advancement and increasing medical expenditure, in order to sustain universal coverage health insurance system. It is important to evaluate those technologies based on appropriate methods and data.

keywords: economic evaluation, health technology assessment, cost effectiveness analysis, health insurance system

(accepted for publication, 21th February 2017)

I. 費用対効果評価導入の背景

日本の国民医療費は2013年度に40兆円を超え、近年では毎年約8千億円から1兆円程度増加している。その理由として一つは高齢者の増加が挙げられる。65歳以上高齢者は3000万人（人口の約1/4）を超え、75歳以上の後期高齢者も1560万人（人口の約1/8）となっている。2008年度にスタートした後期高齢者医療制度による医療費が国民医療費全体の1/3を占めている。しかし国民医療費が増加する要因は高齢者の増加だけではなく、国民医療費の伸びの要因分析によると、高齢化と同等またはそれ以上に関連していると考えられるのが、医療の高度化や患者負担の見直し等の、高齢化や診療報酬改定では説明できない要因である [1]。この中でも新規医療技術や医薬品等の導入による医療の高度化は大きく影響していると考えられる。実際に高額療養費制度の対象となる医療費の伸びは国民医療費全体の伸びを大きく上回っている。

医療技術の進歩は、患者や国民に多くのメリットをもたらしている。新たな治療法や治療薬等が開発され、利用されることにより、生存年数の延長やQOL (Quality of Life) の向上など様々な恩恵がもたらされる。これは

そのような治療法をすぐに必要とする患者だけでなく、多くの国民が望んでいることである。一方このような技術進歩は医療費の増加に寄与しており、日本ではこれを主に健康保険料と公費（税金）によって賄っている。そこで日本と同様に公的な医療保障制度を有する国においては、医療技術や医薬品等の費用対効果の評価を行い、カバーする技術の範囲や償還価格の設定等に反映している国がある [2]。代表的にはイギリスのNICE (National Institute for Health and Care Excellence) の活動である。

II. イギリスにおける費用対効果評価の利用

イギリスでは国民保健サービス (National Health Service: NHS) という税金で全国民をカバーする医療保障制度を有している。原則として受診時の自己負担がないしくみである。税金を用いて医療を提供しているため、効率的な医療提供に取り組んでおり、1999年に、NHSにおける臨床医療のレベル向上と資源の有効活用を促進する目的でNICEが設立された。NICEでは選択された医薬品や医療技術等に関して、臨床的な有効性・安全性、さらに費用対効果の評価を行い、NHSでの使用を推奨するか否かの勧告を行っている。評価対象とする品目は

保健省が選定することとなり、評価結果を受けて、原則としてNHSでの使用を推奨、使用を非推奨、一部の患者集団等に限定して使用を推奨の3つの判断を示している。2000年3月～2016年11月の期間に評価された654品目の評価結果を見ると、NHSでの使用が推奨されているものが60%、非推奨のものが15%、一部の患者集団等に限定して使用を推奨しているものが21%となっている。また残りの4%については、臨床的なエビデンスが十分でないため、臨床試験等の研究目的に限定した使用推奨となっている（図1）。

NICEによる評価では、臨床的な有効性や安全性、費用対効果といった側面を科学的に分析するアセスメント（assessment）という段階と、分析された結果の解釈や費用対効果以外の要素を含めて検討するアプレイザル（appraisal）という2つの段階に基づいて最終的な意思決定がなされている（図2）。アプレイザルにおいては、費用対効果の分析結果として、概ね1 QALY（Quality Adjusted Life Year：質調整生存年）増加あたり2～3万ポンド以下ならば効率的という目安を示しているものの、これに加えて、疾患の重症度や致命的な疾患での延命治療、イノベーションの大きさなどの総合的な観点から評

価を行い、1 QALY増加あたり3万ポンド以上の費用がかかる場合であっても推奨されている事例が多数みられる。科学的なアプローチによる費用対効果の評価は医療技術や医薬品等の価値を評価する際の一つの方法であり、このようなアプレイザルが個別品目ごとに行われていることは重要である。

NICEによる評価においてもいくつかの課題が指摘されている。ここでは2つの大きな課題について示しておきたい。まず課題の1番目は費用対効果の評価には時間がかかるという点である。設立当初、NICEでの評価には1～2年程度の時間を要していた。しかも医薬品等の承認後にNICEの評価が行われるため、その期間は実態として臨床現場でほとんど使われないという状況になっていたようである。これは仮にその新薬等が費用対効果に優れるものであっても、実質的に使用されない期間ができてしまう可能性があり、適切でない。そこでNICEでは2005年から単一医薬品の単一適応症に関して迅速なプロセスで評価結果を出すSingle Technology Appraisal（STA）という方法を導入している。この方法では、従来承認後から行われていた評価を承認前から行うようにしたこと、また評価のための基礎的なデータや分析は製薬企業が提出し、それを専門家がチェックし、必要に応じて再分析をするというしくみとなっている。これにより承認後あまり時間を置くことなく使用の推奨等の判断ができるようになってきている。これまでに評価された654品目のうち242品目（37%）はSTAによる評価である。

2番目の課題として、NICEがNHSでの使用を推奨しないと判断した場合には、その新規技術はほぼ利用されなくなってしまう。つまり新規医療技術へのアクセスを制限することになる。費用対効果の観点から使用を推奨しないのは、多くの場合、従来の治療法と比べてその技術が有効性や安全性の面で劣るわけではなく、増分費用効果比（Incremental Cost Effectiveness Ratio: ICER）の値が大きい、つまり追加的に得られる効果に対して追加的にかかる費用が大きい場合である。従ってもし費用負担を考慮する必要がなければ、使用されるべきものである。そこで、費用対効果の観点からNHSでの使用が推奨されないおそれがある際に患者のアクセスを確保する

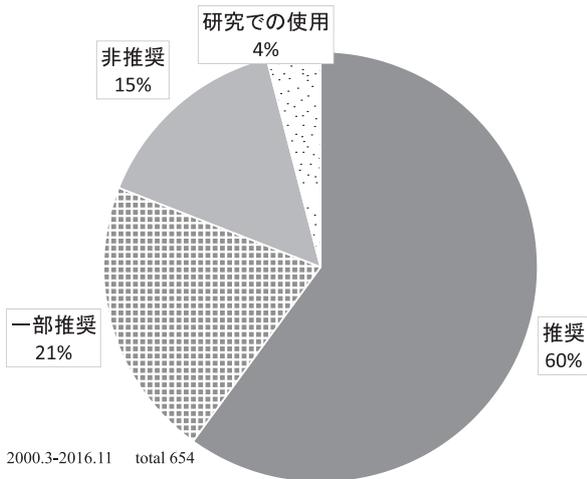


図1 NICEにおける評価結果

- ・ 一般的な医療技術評価の意思決定のプロセス
- ・ 費用対効果を含めた様々な要素を考慮して評価を行う。



図2 医療技術評価のプロセス

ための措置として患者アクセススキーム (patient access scheme: PAS) という方法が2009年から導入されている。これは品目ごとに費用対効果を改善する方法を医薬品等の製造企業が提案し、その条件ならば費用対効果に優れると判断されれば、推奨となるものである。企業からの提案には一定回数以上の投与は企業負担とする方法や、かかった費用の一部を払い戻す方法など様々なものがあるが、最近多くなっているのは、公表されているリスト価格よりも割引いた価格で提供するという提案で、この場合に実際に提供される価格については公表されない取り決めになっている場合が多い。これは実際には医薬品等の価格を下げて提供することを意味しているが、わが国と異なるのは、イギリスにおいては医薬品の価格を国が決めるしくみを持っていない、製造企業が決めることになっているため、PASでの値引きについても企業が提案するしくみになっている点である。

III. 日本での費用対効果評価の利用に関する議論

わが国でも新規医薬品については、1992年から製造企業による費用対効果の分析資料を任意で添付しても良いことになっている [3]。どの医薬品に添付されていたかは公表されないが、研究者が製造企業に調査した結果によると、1990年代後半には承認された新薬のうち4～5割程度に費用対効果の資料が添付されていたが、2000年代後半になるとほぼ添付されなくなっている。その理由として企業からの回答では、「資料提出のメリットがないと考えたため」が最も多い。このしくみでは、企業が提出した資料の活用方法が定められていないため、意思決定には用いられていない状況になっている。

これまでに新規の医療技術等に関しては、例えば医療機関における禁煙指導に関して「ニコチン依存症管理料」が2006年に新たに保険収載され、その導入にあたって費用対効果の資料が提示され検討されたことはあるが[4]、体系的な取り組みがされてきた状況ではなかった。これに対して、中央社会保険医療協議会 (中医協) において、費用対効果評価の活用の可能性が指摘され、2012年4月に中医協の下に費用対効果評価専門部会が設置された。ここでは費用対効果の評価対象とする技術等の選定方法、評価手法、評価結果の活用方法等について議論されてきている。費用対効果分析の具体的な方法や事例、諸外国での取り組み状況などが議論され、2015年には具体例を用いて費用対効果の評価方法に関する検討が行われた。制度の基本的な考え方については初期の段階から議論されている。対象技術の原則としては、希少な疾患を対象としないことや財政影響が大きい可能性があるものを対象とする点などが挙げられている。また結果活用の原則としては、費用対効果評価の結果のみをもって保険収載の可否や償還価格を判定・評価するものではないといった点である。前述のイギリスNICEの取り組みのように、一般に費用対効果を評価する流れとして、アセスメント

に加えてアプレイザルを行うことが重要である。結果活用の原則として確認されたのは日本で取り組む際にもアセスメントに加えてアプレイザルを行うという流れである。

その後、2015年6月に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針2015」において、「医療の高度化への対応として、医薬品や医療機器等の保険適用に際して費用対効果を考慮することについて、平成28年度診療報酬改定において試行的に導入した上で、速やかに本格的な導入をすることを旨とする」という記載が盛り込まれた [5]。これを受けて2016年4月から医薬品・医療機器について費用対効果評価の試行的導入が開始されている。

IV. 医薬品・医療機器の費用対効果評価の試行的導入

医薬品・医療機器の費用対効果評価の試行的導入に際しては、いくつかの論点があった。一つは対象とする医薬品や医療機器の選定方法で、特に今後承認され保険収載される新規の医薬品や医療機器を対象とするのか、あるいは既に保険収載され医療現場で用いられている医薬品や医療機器を対象とするのかという点である。諸外国で多く見られるのは、新規に収載される品目についての評価である。ただし、新規収載品目の評価を行う際には、イギリスのNICEにおいても課題となった評価時間の問題がある。わが国では新規医薬品の場合には原則として薬事承認後60日以内 (遅くとも90日以内) に保険収載されるルールがあり、この期間に費用対効果の評価 (アセスメントおよびアプレイザル) を適切に行うことは困難である。日本ではこれまでも欧米諸国に比べて承認や保険収載が遅れるいわゆるドラッグラグといった問題が指摘されており、承認審査を迅速に行うなどの努力によってこのラグが少なくなってきたが、新たに費用対効果の評価を行うことによって、また新たなラグが生じるのであれば、これは好ましいことではない。そこで、費用対効果評価の試行的導入においては、既収載品目の評価を行うという方向になった。既収載品目を対象とするのであれば、保険収載が遅れるといった問題は生じない。

もう一つの点は、評価結果の活用方法である。諸外国での取り組みにおいては、費用対効果評価の結果に基づき、医薬品等を公的医療保障制度での給付範囲に加えるかどうかの判断をしている場合が多い。イギリスのNICEによる使用推奨もその一つである。ただしこれも前述の通り、新規の医薬品等を患者が利用できなくなる可能性がある。幸い日本では医薬品や医療機器について償還価格を設定する制度を有しているため、試行的導入においては費用対効果の評価結果を償還価格の調整に利用する方針となっている。償還価格の調整に用いるのであれば、患者が利用できなくなるということもない。

既収載の医薬品や医療機器については、基準を設定して、対象品目を選定している。具体的には、医薬品の場合では、まず指定難病、血友病及びHIV感染症や未承認

薬・適応外薬検討会議を踏まえた開発要請等の品目を除外し、その上で、平成24年度から平成27年度に保険収載された品目で、類似薬効比較方式で薬価算定がされたものについては、補正加算（画期性加算や有用性加算等）の加算率が最高のも、または、10%以上の補正加算が認められたものの中でピーク時予測売上高が最高のもとされた。また、原価計算方式で算定されたものについては、営業利益率の加算率が最高のも、または、10%以上の加算が認められたものの中でピーク時予測売上高が最高のもとされた。さらにこれらの条件で選定された品目の薬理作用類似薬も対象となる。医療機器についても同様の基準が設定され、対象品目が選定されている。これらの基準に合致するものとして、医薬品7品目、医療機器6品目が試行的導入の評価対象となっている。

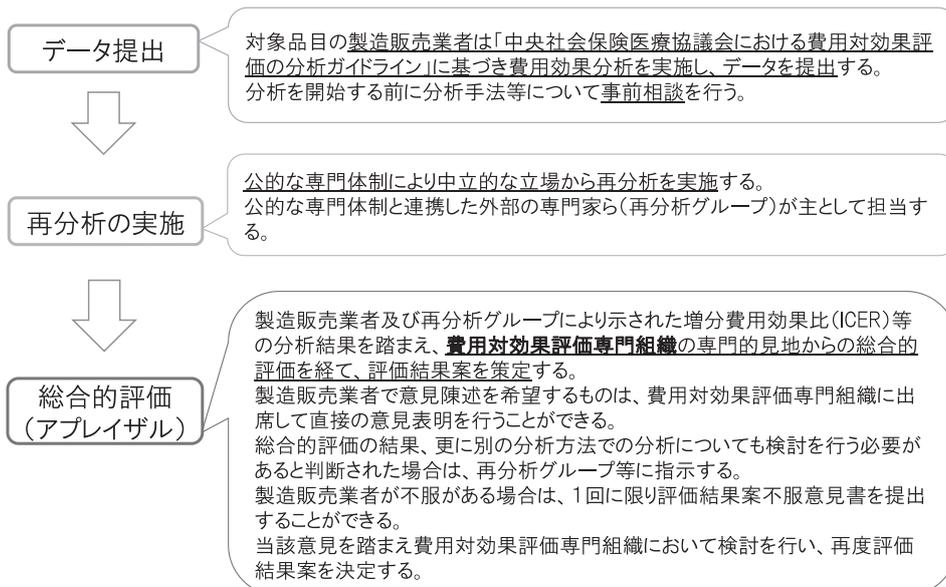
V. 費用対効果評価の試行的導入における評価プロセス

医薬品・医療機器の費用対効果評価の試行的導入においては、まず対象品目の製造販売業者が費用効果分析を実施し、データを提出することになっている（図3）。この際に分析の方法に関しては、「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」に沿って行うこととされている [6]。また、分析を開始する前に分析手法等について事前相談を行うしくみになっており、分析手法については後述する費用対効果評価専門組織で確認することになっている。製造販売業者から提出された分析やデータについては、公的な専門体制により中立的な立場から再分析を実施することとなっている。これは業者から提出された分析の内容を確認し、必

要に応じて再計算等の分析を行うものである。再分析に関しては、公的な専門体制と連携した外部の専門家（再分析グループ）が主として担当する。諸外国においてもこのような中立的な評価が重要とされており、国立または公的な機関が中心となって分析を行っていることが多い。

製造販売業者及び再分析グループによる分析結果は、中医協の下に新たに設置された「費用対効果評価専門組織」に報告され、ここで専門的な見地から総合的評価が行われる。アプレイザルに相当する段階である。費用対効果評価専門部会は費用対効果評価の対象の選定基準や評価の方法、結果の活用方法などについてのルールを検討する場で、公開で議論がされているが、費用対効果評価専門組織は個別品目の評価結果について議論する場であるため、非公開で議論が行われる。費用対効果評価専門組織で議論された結果については、薬価算定組織又は保険医療材料専門組織に報告をされ、評価結果に基づき価格調整がなされる（図4）。

これと平行して、新たに承認を受ける新規収載品についても、選定基準が設定され、これに合致したものについては、製造販売業者による分析およびデータ提出、公的な専門体制による再分析、費用対効果評価専門組織による総合的評価という一連の評価プロセスに沿った評価を行う。ただし、評価が新規収載品の保険収載に間に合わないと考えられることから、試行的導入の際には新規収載品に係る評価結果を価格算定に用いないこととなっている。にもかかわらず、新規収載品の評価を行う理由としては、将来的な本格導入に向けて検討を行うためである。



（中医協総会（H28.2.10）資料より作成）

図3 費用対効果評価の一連の流れ

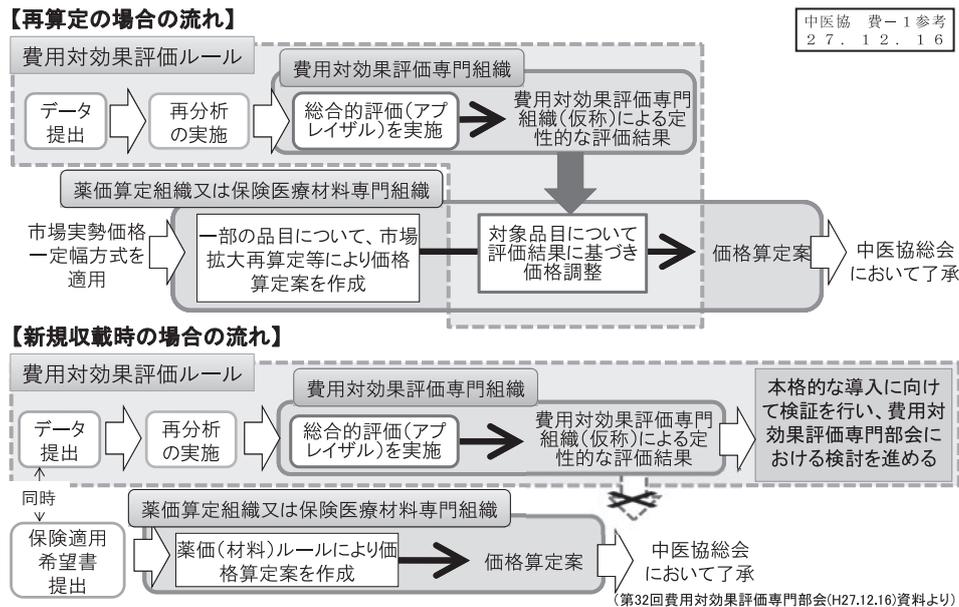


図4 試行的導入における取組の流れ(概要)

VI. 費用対効果評価の今後の取り組み

2015年6月に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針2015」においても、「平成28年度診療報酬改定において試行的に導入した上で、速やかに本格的な導入をすることを旨とする」とされている通り、将来的には費用対効果評価を制度として導入することが想定される。費用対効果評価専門部会では、本格的な導入に向けて検討すべき事項が議論されている。その一つが選定基準の見直しである。現在、設定されている選定基準はあくまでも今回の試行的導入のためのものであり、再度検討が必要である。総合的評価で議論すべき具体的内容についても今後の課題である。また、新規取組品の評価を行うことを想定して、迅速な評価に必要な体制や、新規取組時に提出が行われるデータの質や内容等についての検討も必要である。さらに、日本におけるデータ整備に係る取り組みの推進や、評価結果に基づき償還の可否の判断を行う場合の具体的な取扱いについても課題として挙げられている。日本におけるデータ整備については、まず費用に関するデータは国内で整備する必要がある。効果についても特にQALYを算出する際に必要となるQOLデータは、なるべく国内の患者に調査したものをを用いるべきである。このようなデータを整備するための取り組みが必要となる。これらについては特に研究としての取り組みが重要になる部分である。また、試行的導入においては評価結果を償還価格の調整に用いることになっているが、本格的な導入においては償還の可否の判断を行う場合についても検討することとなっている。試行的導入の状況を踏まえて議論されるものと考えられる。

さらに平成28年度診療報酬改定に係る答申書附帯意見

では、「著しく高額な医療機器を用いる医療技術の評価に際して費用対効果の観点を導入する場合の考え方について検討すること」という指摘も含まれており、今後は医薬品・医療機器のみならず、高額な医療機器を用いる医療技術の評価なども評価対象となっていくものと想定される。

医療技術や医薬品等の費用対効果の評価とその応用は、単に医療費を抑制しようというのではなく、どのような技術などにどのくらい費用をかけるべきかを合理的に判断する一つの材料を示すものである。公的医療保険制度のもとで、多くの医療が提供されているわが国においては、技術進歩と医療費支出のバランスを保ち、国民皆保険制度を維持するためにも必要とされるものである。重要なのはこのような評価が適切な手法やデータに基づいて実施される点であり、そのために、今後も継続して研究に取り組むことが重要である。

参考文献

- [1] 厚生労働省保険局. 医療費の伸びの要因分析. 2016. <http://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/special/reform/wg1/280915/shiryu2-1.pdf> (accessed 2017-02-20)
- [2] 福田敬, 白岩健, 五十嵐中, 小林慎, 池田俊也, 能登真一, 下妻晃二郎, 坂巻弘之. 世界で医療経済評価はどのように用いられているか?—7カ国の比較調査結果と日本での応用可能性についての検討—。医療経済研究. 2012;23(2):147-164.
- [3] 池田俊也, 小林慎, 福田敬, 坂巻弘之. 薬剤経済学の新薬の薬価算定への利用可能性と課題(上). 社

- 会保険旬報. 2011;2467:16-21.
- [4] 福田敬. 医療経済評価の政策利用について—禁煙治療の保険収載を例に一. Monthly IHEP. 2007;152:39-43.
- [5] 内閣府. 経済財政運営と改革の基本方針2015. http://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/2015/2015_basicpolicies_ja.pdf (accessed 2017-02-20)
- [6] 第33回中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会. 資料「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」. 平成28年1月20日. <http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-HokenkyokuIryouka/0000109789.pdf> (accessed 2017-02-20)