

## フェニールケトン尿症マススクリーニングの費用－便益分析

久繁哲徳\*, 長谷豊\*\*, 田丸政男\*

**要約** フェニールケトン尿症スクリーニングの経済的評価を実施した。評価方法としては、費用－便益分析を用いた。120万人の新生児を対象として、疾患の発生率を1/8,0500, 検査の有効性を、感度100%, 特異度99.9%とした。スクリーニングの健康結果としては、精神遅滞の発生が100%回避できるものとした。また、割引率を7%に設定した。判断分析により、問題を構造化し分析した結果、1患者発見当たり、費用は2235万円、便益は5623万円であった。したがって、スクリーニング実施により、純便益が3388万円得られ、費用－便益比は1.25となった。

見出し語：フェニールケトン尿症，費用－便益分析，純便益，感度分析

**目的** マス・スクリーニングは、疾病予防上、極めて重要な位置を占めていおり、わが国では、新生児に対する先天代謝異常・内分泌疾患に対する、全国レベルの多様なスクリーニング・システムが1970年代後半に確立された<sup>1)</sup>。

しかしながら、こうしたスクリーニング・システムの臨床的有効性および経済的効率に関しては必ずしも十分な評価が実施されていない。

そこで、現在実施されているスクリーニング・プログラムの効果について、米国予防医学特別委員会の基準に基づき批判的吟味を実施した結果、検査有効性および健康結果の改善が認められるが、明確な根拠を示すものは限られており、さらに今後の検討が必要であることが明らかとなった。

今回は、スクリーニングの有効性の評価結果に基づき、スクリーニングの経済的効率に関する評価を実施した。

### 対象と方法

#### 1) 分析モデルの設定

フェニールケトン尿症のマススクリーニングの経済的分析を行うために、方法として費用－便益分析 (cost-benefit analysis, CBA) を用いた<sup>2, 3)</sup>。スクリーニング・プログラムの構成と経過、健康結果とともに分析のための情報を

把握するために、図1に示すような判断樹を設定した<sup>4)</sup>。

まず、出生状況から、対象集団として新生児120万人を設定し、フェニールケトン尿症の発生率を1/80,500とした<sup>5)</sup>。

スクリーニング実施の代替案では、まずスクリーニング検査の有効性 (感度、特異度) を表1に示した。感度は、従来の調査によりフェニールケトン尿症の見逃し例は認められていないため100%とした。また、特異度は、主なスクリーニング実施機関に対して調査を実施した結果、99.996%であった。

したがって陰性適中率 (negative predictive value) <sup>6)</sup> は100%となり、スクリーニングで正常となれば、フェニールケトン尿症は認められない。異常の場合は、偽陽性例が存在するため、さらに精密検査を行い疾患と健康者の確定を行う。

スクリーニングによる健康結果 (表1) は、現在までの報告<sup>1)</sup>によれば精神遅滞はほぼ認められず全員健康となる。発見患者については、治療を実施するが、治療と検査の内容および実施頻度については、従来の報告・指針と専門家

\* 鈴鹿医療科学技術大学：医用工学部

\*\* 大阪市立北市民病院：小児科

に対する調査により把握した。

スクリーニング非実施の代替案の健康結果では、フェニールケトン尿症が発生し、さまざまな程度の精神遅滞が発生する(表1)。障害の発生状況とその程度については、スクリーニングを実施していなかった時期の患者の予後に関する報告を用いた<sup>1)</sup>。

## 2) 費用

スクリーニングの費用については以下の項目が挙げられる<sup>6)</sup>。まず、スクリーニング検査費用であり、検査を行うための試薬代および人件費、検査機器の減価償却費、検体の郵送料が含まれる。なお、現在のスクリーニングでは、4項目のアミノ酸検査が同時に実施されているため、共通費用として、平均配分により1項目当たりの費用を計算した<sup>2, 3)</sup>。また患者あるいは偽陽性例の確定診断のための精密検査費が必要となる。これらの費用については主な医療機関および専門家に対して調査を実施した。

次に、患者の治療に関しては、当初1ヶ月間は入院治療を行い、その後1年間は1ヶ月に1回通院治療、その後は1年に1回通院治療を15歳まで実施することとした。治療の内容については、治療勧告指針と治療機関の専門家の意見に基づいて治療モデルを設定した<sup>4, 6)</sup>。医療費については、診療報酬点数から算定した<sup>7, 8)</sup>。

なお、食事療法については、勧告治療指針<sup>1)</sup>に基づき年齢別に摂取フェニールアラニン量を推定し、管理に必要なロフェミルクあるいは治療用食品量と価格を、年齢別・体重別に把握した<sup>9, 10, 11)</sup>。治療期間中の検査としては、血清アミノ酸、電解質、アルカリフォスファターゼ、カルシウム、リン、脳波、手根骨のレントゲン検査を実施する。

## 3) 便益

スクリーニングの便益については、以下の項目が挙げられる<sup>6)</sup>。まず<直接便益>は、障害にとまなう施設費・養育費・特別教育費が、スクリーニングにより回避されたことにより、生じた利益である。

精神遅滞とその後の経過モデルの設定に関しては、福祉事務所、職業安定所などの機関の電

話調査を実施した。養護および特殊教育については、通常の義務教育費との差額が便益と計上されるため、厚生省および文部省の資料を分析するとともに、電話調査を行った。また、それと並行して治療機関に対するアンケート調査も実施した。

<間接便益>としては、患者自身の精神遅滞による生産損失、および患者の介護あるいは管理による母親の生産損失が含まれる。患者の生産損失については、生涯稼働額を新ホフマン方式により算出した<sup>12)</sup>。賃金については、賃金センサスの全産業および企業規模計、学歴計の平均賃金を用いた<sup>13)</sup>。母親の生産損失については、患者と同様の方法を用いて評価を行った。ただし、生産損失の程度については50%と仮定した。スクリーニング・プログラムでは、費用と便益の発生に時期の違いが認められる。したがって、時間選好(time preference)が存在するため、すべての費用と便益については、時期の違いを調整するために割引き(discounting)を行った。すべての費用と便益は、1993年の現在価値に割引いた<sup>2, 3)</sup>。

## 結果

### 1) プログラム費用

フェニールケトン尿症スクリーニング・プログラムの検査費用は173円(1検体の平均費用)であり、発見患者1人当たりのスクリーニング検査費用は1393万円となる。また、1患者当たりの偽陽性者は3.08人となり、精密検査費用は2万円が追加され、表2に示すように、患者当たりのスクリーニング検査費用は1395万円となる。

治療費用では、ロフェミルクを中心とする食事療法は総額705万円となる。また、1ヶ月間の検査・入院・管理費用は135万円であった。したがって、治療費用の総額は840万円となる(表2)。

以上の結果から、スクリーニング・プログラムの費用は、2235万円となる。

### 2) プログラム便益

直接便益である、回避された施設・養育・特別教育費は、表2に示すように、総額2705万円

となる。この便益の最大の構成要素は、重症心身障害施設への入所の回避万円であった。

間接便益である患児と母親の生産損失の回避は、それぞれ1334万円、1584万円であり、総額総額2918万円となる(表2)。

したがって、以上の結果から、スクリーニング・プログラムの便益は、5623万円となる。

### 3) 費用-便益の統合評価

上記の1患者発見・治療当たりの費用-便益を統合的に評価すると、表2に示すように、便益から費用を差し引いた純便益は3389万円、費用に対する便益比の比は、2.52であった。

### 考察

今回の分析結果から、フェニールケトン尿症のスクリーニングは、費用-便益比が1を越え、2.52と高く効率的なプログラムであることが明らかとなった。

従来より、フェニールケトン尿症のスクリーニング・プログラムは、他の多くの保健医療プログラムの中でも最も効率的であると指摘されており<sup>14)</sup>、諸外国における検討結果でも<sup>6, 15, 16)</sup>、変動はあるものの、いずれも費用-便益比は1を越え、純便益は正の値を示し、わが国の結果と一致していた。

わが国のフェニールケトン尿症スクリーニングは、効果の根拠も比較的質が高く、しかも効率的であることが示されたが、わが国で実施されているスクリーニングの多くが、効果および効率の根拠が明確でないことと比較して、例外的なプログラムと考えられる<sup>17)</sup>。

その意味では、今後、さらにフェニールケトン尿症以外の疾患についても、効果の批判的吟味の結果を基礎に、費用と便益の検討を進め、新生児マス・スクリーニング・システムの包括的な評価を実施することが必要と考えられる。

### 文献

- 1) 成瀬 浩, 松田一郎 監修: 新生児マススクリーニングハンドブック, 南江堂, 1989
- 2) Drummond MF: Principles of economic appraisal in health care, Oxford Univ Press, 1980

- 3) Drummond MF, et al: Methods for the economic evaluation of health care programmes, Oxford Univ Press, 1989
- 4) 久繁哲徳 編: 臨床判断学, 篠原出版, 1990
- 5) 厚生統計協会: 国民衛生の動向, 厚生指標, 38(9), 1991
- 6) Barden HS, et al: The costs and benefits of screening for PKU in Wisconsin, Soc Biol, 31:1-17, 1984
- 7) 社会保険研究所: 診療報酬点数表, 社会保険研究所, 1993
- 8) 厚生省: 点数表の解釈, 社会保険研究所, 1993
- 9) 社会保険研究所: 薬価基準, 社会保険研究所, 1993
- 10) 厚生省: 平成2年国民栄養調査, 1991
- 11) 厚生省: 平成2年乳幼児身体発育調査, 1990
- 12) 大蔵省保険第2課: 自賠責保険のすべて, 保険毎日新聞社, 1989
- 13) 労働省: 平成2年賃金構造基本統計調査, 賃金センサス, 1991
- 14) Torrance GW: Measurement of health state utilities for economic appraisal, J Health Economics, 5:1-30, 1986
- 15) Steiner KC, Smith HA: Application of cost-benefit analysis to a PKU screening program, Inquiry, 10:34-40, 1973
- 16) Webb JF, et al: PKU screening, is it worth it?, Can Med Assoc J, 108:328-329, 1973
- 17) 久繁哲徳: 疾病予防対策の評価と実行に向けての合意形成, 成人病の二次予防と一次予防の効果をめぐる, 日本医事新報, 3516:48-52, 1991

図1 PKUマス・スクリーニングの判断樹

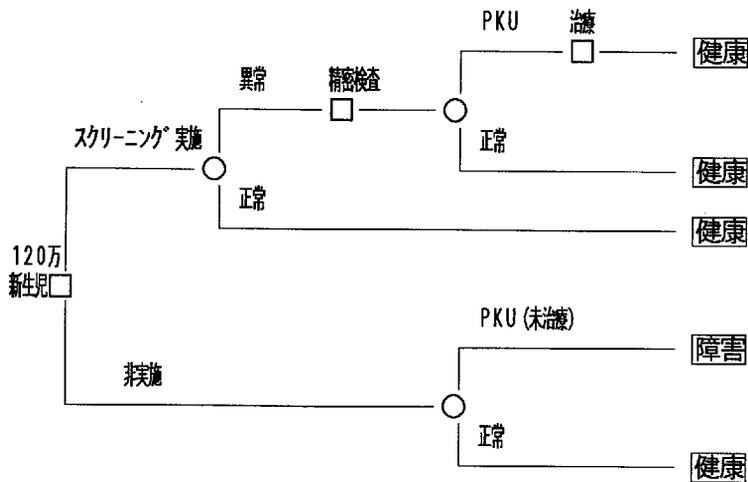


表1 フェニルケトン尿症スクリーニングの有効性

検査の有効性	
感度	: 100%
特異度	: 99.99618%
健康結果	
スクリーニング実施	: 精神遅滞なし
スクリーニング非実施	: 精神遅滞発生
	IQ: 71-85 (10%)
	51-70 (20%)
	36-50 (30%)
	21-35 (30%)
	-20 (10%)

表2 フェニルケトン尿症スクリーニングの費用-便益

発生率	: 1/80,500
受検者	: 1200,000 (設定人口)
純便益	: 3388万円
費用-便益比	: 1:2.52
費用	: 2235万円
スクリーニング検査費用	: 1395万円
食事療法費用	: 705万円
検査・入院・管理費用	: 135万円
便益	: 5623万円
直接便益	: 2705万円
	(回避された施設入所・養育費・特別教育費)
間接便益	: 2918万円
	(回避された生産損失(患児): 1334万円
	回避された生産損失(母親): 1584万円)

(1患者発見・治療当り)  
割引率=7%



## 検索用テキスト OCR(光学的文字認識)ソフト使用

論文の一部ですが、認識率の関係で誤字が含まれる場合があります



要約フェニールケトン尿症スクリーニングの経済的評価を実施した。評価方法としては、費用一便益分析を用いた。120万人の新生児を対象として、疾患の発生率を1/8,0500、検査の有効性を、感度100%、特異度99.9%とした。スクリーニングの健康結果としては、精神遅滞の発生が100%回避できるものとした。また、割引率を7%に設定した。判断分析により、問題を構造化し分析した結果、1患者発見当たり、費用は2235万円、便益は5623万円であった。したがって、スクリーニング実施により、純便益が3388万円得られ、費用一便益比は1.25となった。