

20020018

平成 12 年度
厚生科学研究費補助金
(政策科学推進研究事業)
による研究報告書

薬価算定における医薬品の費用対効果の反映方法に関する研究

報告書

平成 13 年 3 月

財団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会



医療経済研究機構

平成 12 年度
厚生科学研究政策科学推進事業
「薬価算定における医薬品の費用対効果の反映方法に関する研究」

巻頭言

(主任研究者)

財団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会
医療経済研究機構

所長 宮澤 健一

先進各国においては、財政的な制約と国民の医療に対する要求水準の高まりを背景として、良質な医療を効率的に提供していくことが重要な課題となっている。医薬品に関しては「薬剤経済学」と呼ばれる経済的評価研究が 1970 年代より行われており、わが国においては、1999 年の中央社会保険医療協議会（以下「中医協」と略）薬価専門部会において、2000 年度以降、薬価算定における医薬品の費用対効果等の反映方法の研究に着手し、その結論が得られればルールの見直しを図ることが提言されている。

こうした背景を踏まえて、以下の研究班を組織し、「薬価算定における医薬品の費用対効果の反映方法に関する研究」を平成 12 年度厚生科学研究補助金による政策科学推進研究事業として実施した。本研究は、今後の中医協薬価専門部会における検討に必要なと考えられる項目について調査・分析を行い、薬価政策に資する基礎的資料として提示することを目的としている。この領域における内外の展開レベルの現況と性格を明らかにすることを通じて、本研究成果が今後の議論進展の一助になれば幸いである。

なお、本研究におけるインタビューにご協力いただいた各国関係機関・諸氏、在連合王国日本大使館一等書記官 大西証史氏、経済協力開発機構日本政府代表部二等書記官 竹林経治氏、アストラゼネカ株式会社薬事経済部長 渡辺芳文氏、山之内ヨーロッパ B.V. 木村琢磨氏、日本製薬工業協会国際部次長 永瀬康生氏、アンケート調査においてご支援ご協力を頂いた（社）東京医薬品工業協会及び会員各社、日本製薬工業協会及び会員各社の皆様にこの場を借りて、厚く感謝の意を表する次第である。

研究組織

主任研究者

財団法人医療経済研究・社会保険福祉協会 医療経済研究機構 所長 宮澤健一

分担研究者

財団法人医療経済研究・社会保険福祉協会 医療経済研究機構 主任研究員 坂巻弘之
// 主任研究員 片岡佳和
// 研究員 佐野 毅
// 研究員 久保田健
// 研究員 長尾 満
// 研究員 広森伸康

研究協力者

慶應義塾大学医学部医療政策管理学教室 専任講師 池田俊也
北里大学薬学部臨床薬学研究センター 教授 望月真弓
日本製薬工業協会医薬産業政策研究所 主任研究員 中村景子
財団法人医療経済研究・社会保険福祉協会 医療経済研究機構 研究員 油谷由美子
// 研究員 小泉敦保

外国人研究者招聘事業（社会福祉法人 恩賜財団母子愛育会）

イギリス： Richard Smith（British Medical Journal 編集長）
Richard Lilford（バーミンガム大学教授、NHS 理事）

インタビューならびに訪問調査にご協力いただいた方々・組織

イギリス： Michael Drummond（ヨーク大学教授）
NICE（国立臨床評価研究所）
ABPI（イギリス製薬協）
Astrazeneca 社

フランス： Bernard Geneste（医療経済コンサルタント）
Claude Le Pen（医療経済コンサルタント）
SNIP（フランス製薬協）
AFSSAPS（フランス医療材料保健安全庁）
Aventis 社

カナダ： George Torrance（マクマスター大学名誉教授）
Aslam H. Anis（ブリティッシュ・コロンビア大学教授）

ドイツ： VFA（ドイツ製薬協）
Ansgar Gerhardus（Dept. of Epidemiology, Social Medicine
and Health System Research, Mannover Medical School）

オランダ： Nefarma（オランダ製薬協）
CVZ（疾病金庫協議会）

報告書の構成

研究においては以下の調査を実施した（カッコ内は研究担当者、敬称略）。

- ① 諸外国における医薬品政策と薬剤経済学（医療経済研究機構研究チーム）
- ② 薬剤経済学研究ガイドラインの翻訳・レビュー（医療経済研究機構研究チーム）
- ③ アンケート調査（医療経済研究機構研究チームおよび中村）

これらをもとに本報告書は、以下の4部から構成される。

第1部 総括論文

調査から示唆されるわが国における薬剤経済学の政策利用の可能性および問題点について、総括論文としてまとめられている。

第2部 諸外国における医薬品政策と薬剤経済学

イギリス、フランス、ドイツ、オランダ、アメリカ、カナダ、オーストラリアの7カ国に関する公表資料、インターネット等により医療保障制度、薬剤給付制度、ガイドライン、開発・マーケティングの規制等を整理した。

第3部 諸外国における薬剤経済学研究ガイドラインの概要

上記7カ国において作成された研究ガイドラインの要旨に関するまとめがなされている。

第4部 アンケート調査

以下の3調査が実施され、それぞれについて報告書としてまとめられている。

(1) アンケート1

社団法人東京医薬品工業協会会員製薬企業（調査期間：平成13年1月10日～26日）

(2) アンケート2

日本製薬工業協会会員製薬企業（調査期間：平成13年1月10日～26日）

(3) アンケート3

日本化学療法学会臨床試験指導者の医師・歯科医師並びに財団法人日本抗生物質学術協議会会員製薬企業（調査期間：平成13年2月25日～3月31日）

【目 次】

巻頭言

第1部 総括論文

総括論文 薬価算定における薬剤経済学の反映の可能性と政策課題	1
--------------------------------	---

第2部 諸外国における医薬品政策と薬剤経済学

諸外国における医薬品政策と薬剤経済学	25
7カ国の医療保障制度、薬価制度、薬剤経済学導入状況一覧	28
イギリスにおける医薬品政策と薬剤経済学	31
フランスにおける医薬品政策と薬剤経済学	37
ドイツにおける医薬品政策と薬剤経済学	44
オランダにおける医薬品政策と薬剤経済学	49
米国における医薬品政策と薬剤経済学	57
カナダにおける医薬品政策と薬剤経済学	69
オーストラリアにおける医薬品政策と薬剤経済学	77

第3部 諸外国における薬剤経済学研究ガイドラインの概要

諸外国における薬剤経済学研究ガイドラインの概要	83
薬剤経済学ガイドラインの概要一覧	85
イギリス： 『NICEに提出する技術のメーカーおよびスポンサーのための修正ガイドライン』	87
フランス： 『フランスにおける管理戦略の薬剤経済学評価に関する勧告』	91
オランダ： 『オランダの薬剤経済研究ガイドライン』	97
カナダ： 『医薬品の経済性評価ガイドライン 第2版』	100
オーストラリア： 『PBACに提出する資料に関する医薬品産業のためのガイドライン 第2版』	104

第4部 アンケート調査によるわが国における薬剤経済学研究の現状と諸課題

アンケート調査によるわが国における薬剤経済学研究の現状と諸課題	109
わが国における製薬企業の薬剤経済学研究実施状況に関する調査	112
わが国の新薬薬価算定における薬剤経済学資料の現状と政策利用における課題	128
抗菌剤の臨床開発における薬剤経済学研究の現状と課題	151

第1部
総括論文

総括論文

薬価算定における薬剤経済学の反映の可能性と政策課題

(分担研究者)

財団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会

医療経済研究機構

主任研究員 坂 卷 弘 之

I. 本研究の背景と目的

1. 薬剤経済学

わが国の医療費は、これまでも高齢化や医療技術の進歩などに伴って年々増加してきており、今後も引き続き高齢化が進むなど増加のドライブが存在している。その一方で、大きな経済成長が期待できない社会においては、限られた医療資源の中で不要な部分を必要な部分にまわしたり、より成果の大きい医療技術を選択するなど、医療の効率化が重要になっている。

効率化においては、特定の医療技術・サービスが他と比べて費用に見合うだけの成果を生み出しているかについての比較検討がベースとなり、医薬品の費用と成果を比較検討するものを薬剤経済学 Pharmacoeconomics とよぶ。

薬剤経済学は、「医薬品がもたらす費用（資源消費）と、成果／産出（金銭的便益、効果、生活の質（Quality of Life：QOL）、効能、安全性、有病率、死亡率）とを、同定、計測および比較すること」と定義される。

薬剤経済学は、テクノロジーアセスメント（technology assessment）や社会経済学的評価（socioeconomic evaluation）あるいは、単に「費用効果分析」などと呼ばれることもあるが、本研究においては、「薬剤経済学」を一般的な用語として用いることとする。従って、中医協論点などで用いられている「医薬品の費用対効果」についても「薬剤経済学」と同義語として扱う。

II. わが国の薬価制度における薬剤経済学利用のこれまでの経緯

1. 薬価制度の基本機能¹

現在のわが国の薬価基準制度は、以下の2点を基本的な機能として有している。

- ・ 保険医療において使用できる医薬品を規定した「品目表」としての機能

¹ 参考資料：社団法人東京医薬品工業協会 薬価基準研究委員会：医療保険・薬価基準制度の概要(平成13年3月)

・ 保険医療において使用した医薬品の請求価格を規定した「価格表」としての機能
これら二つの機能は薬価基準制度創設時から存在していたわけではなく、いくつかの変遷を経て現在の形に至っている。

現行の薬価制度の基本骨格が出来上がったのは、昭和 25 年 9 月「厚生大臣の定むる薬価基準」に遡ることができるが、この当時、薬価基準はあくまでも「基準価格」であり、都道府県知事に価格決定権があり、しかも薬価基準に記載されていない医薬品も実際の購入価格での償還が可能であるなど、全国統一の価格表としても品目表としても機能は持ち合わせていなかった。品目表としての機能が完成されることになったのは、昭和 32 年 4 月「保険医療機関および保険医療療養担当規則」において、保険医が厚生大臣の定める医薬品以外の医薬品を施用または処方することが禁止されてから以降である。また、全国統一価格表として購入価格＝償還価格の機能が形成されたのは昭和 34 年である。

現行制度のもとでは、医薬品製造（輸入）承認を取得し企業から薬価基準記載の希望のあった品目については、原則として、保険医療に不必要な医薬品以外は記載することが一貫した方針となっている。近年の生活改善薬の登場により部分的な例外も生じてきているが、わが国の薬価制度の特徴の一つとして、保険記載と価格が不可分に決定されていることがある。

諸外国の制度をみると、後述の通り、価格決定と保険記載が別のプロセスで行われている国（カナダ、オーストラリアなど）もあり、研究においては薬価算定における薬剤経済学利用のあり方についての検討が中心となるが、保険記載と価格設定とを別プロセスととらえて諸外国の状況について調査するとともに、わが国における医薬品政策への適用可能性についても個別に検討することが必要と考えられる。

2. 現行薬価算定方式とその問題点

現在、薬価の問題は大きく分けて、既記載品の薬価改定方式と新薬の薬価算定に関する議論とに整理できる。

前者については、市場メカニズムを補いつつ、薬価差が診療内容に影響を与えることが少ない流通、価格改定の仕組みとすることがポイントとなっている。上市後の価格が市場メカニズムにより妥当な水準に収斂する仕組みも求められることから、新薬の価格設定と価格改定方式とが完全に独立した議論とはいえないが、今回の研究においては新薬の価格設定における薬剤経済学の利用が研究目的であることから、本稿では議論の対象外としている。

現在の新薬の薬価算定方式は、当該新薬と最も類似した既存薬と同等の価値と見なして算定する類似薬効比較方式と、類似薬が存在しない場合に用いられる原価計算方式とに大別される。このうち、類似薬効比較方式については、既存薬に比し高い有効性または安全性を有することの実証などの諸条件が満たされた場合には、画期性加算あるいは有用性加算として補正加算がなされ、それぞれ一定率分、類似薬の薬価に上乘せされる。

これらの方式では薬剤の価値を必ずしも適切に反映し得るものではないと認識されており、適正かつ効率的な価格設定の方法が模索されているところである。例えば、原価計算方式にて算定される品目には、希少疾病に用いる薬剤のほか、革新的であるが故に既存の類似薬がなく、従って当該方式にて算定せざるを得ない薬剤も含まれており、原価による算定がこれに該当する薬剤の革新性ならびに市場における経済的価値を反映し得ないことは、容易に想像できることである。

医薬品政策において最も重要なことは、政策の透明性(transparency)と説明責任(accountability)である。新薬の薬価算定を例にとれば、どのような資料、根拠に基づいて、どのような議論、プロセスを経て価格が決定されたかを明確にすることが求められる。

わが国における新薬の薬価算定に関しては 1997 年 4 月以降、算定方式、対象薬、加算有無などが公表されるようになり、さらに 2000 年 10 月からは中医協のもとに薬価算定組織が設置され、新薬の薬価算定の透明性は向上しているといえるが、薬価算定に用いられた資料に関しては公表が義務づけられていないこともあり、薬価算定プロセスに関しては不透明な部分がお残されている。

類似薬効方式に限ってみても、対照薬の選定、加算条件、加算率の設定、海外調整などの問題があると考えられる。

例えば、対照薬については薬効、効能・効果等の類似性から選択されることになっているが、薬価の高い薬剤が選択される傾向は否めない。また、加算要件は定められているものの、数値で示されていないため、加算が合理的な判断で行われているかの評価も困難である。

表 1 は、平成 11 年 5 月から平成 12 年末までの間に薬価収載された抗神経用薬のケースである。いずれも加算はなかったが、海外価格調整の結果、パキシルは 3 番目に承認された薬剤にも関わらず最高の薬価で、しかもその価格は比較対照に比べると 89%増しであり、画期性加算よりも高い薬価になっている。

この他にも、薬価の低い薬効領域では加算があっても相対的に低い薬価にとどまることや、同一薬効の中での価格のばらつきなど、薬価算定における対照薬の価格の合理性についても問題があると考えられる。

表 1. 抗神経用薬の薬価

商品名	収載年月日	算定方式	収載時薬価	対照薬	対照薬薬価
デプロメール錠	11/5/7	類似薬効比較方式 I (海外調整価格)	321.60	レスリン錠 25	197.60
トレドミン	12/9/22	類似薬効比較方式 I (海外調整価格)	227.60	デプロメール錠	305.70
パキシル	12/11/17	類似薬効比較方式 I (海外調整価格)	577.60	デプロメール錠	305.70

3. わが国の薬価制度における薬剤経済学利用のならびに議論の経緯

薬剤の保険収載ならびに薬価算定における薬剤経済学評価の活用が検討されるようになり、1992年8月より製薬企業が厚生省（当時）に提出する薬価申請の際の参考資料として、薬剤経済学評価結果の添付ができるようになった。

以来、薬剤経済学は新薬の薬価算定における参考資料としての活用が期待されてきたが、実際のところ、加算根拠における利用を含め薬剤経済学データが薬価算定に用いられた実績はなかった。

その後、現行薬価制度の問題点の一つとして薬価制度による医療提供者の行動のゆがみが指摘され、1997年当時の与党（自民、社会、さきがけ）による医療制度改革のひとつとして薬価制度改革があげられ、いわゆる「日本型参照価格制度」が議論の俎上にのぼることとなった。参照価格制度は各団体からの強い反発もあり、結局のところ1999年3月、白紙化した。

しかしながら、現行薬価制度の改革・改善に関しては、関係各団体ともおおむね意見が一致しており、議論のポイントは、1999年10月中央医療（中医協）総会における「薬価算定手続きおよび算定ルールの見直しに関する論点整理(案)」の形で以下の6項目に論点が整理された。

- (1) 薬価算定手続き：算定手続きの透明化など
- (2) R幅方式の見直し：既収載品目の薬価改定方式について
- (3) 新薬の薬価算定ルール
 - i. 類似薬効比較方式
 - ii. 画期的新薬、希少疾病用医薬品等の基準と評価方法
 - iii. 新規性に乏しい新薬の基準と評価方法
 - iv. 原価算定方式
 - v. 外国価格との比較調整
- (4) 先発品と後発品
- (5) 再算定ルール
- (6) その他：薬価調査、流通上の問題など

これらのなかで、薬価制度における薬剤経済学の利用可能性に関連する部分をまとめると以下ようになる。

- (1)類似薬効比較方式において、既存薬とは成分の異なる新薬の個々の特性を十分に評価しているとは必ずしもいえない場合もあり、このような新薬の個々の特性を反映させる方法として薬剤経済学の利用が考えられる。
- (2)新薬に関して技術的・経済的な貢献度も視野に入れた明確な該当要件及び細分化した評価基準を設定し、これに対応した適切な経済的評価を行うこと。
- (3)類似薬が存在しない新薬の薬価算定においても薬剤経済学を利用すれば、原価算定方式の問題点を解消できる。

(4)以上をもとに、薬価算定における医薬品の費用対効果等の反映方法の研究に着手し、その結論が得られればルールの見直しを図ることを提言する。

III. 研究の目的と調査研究方法

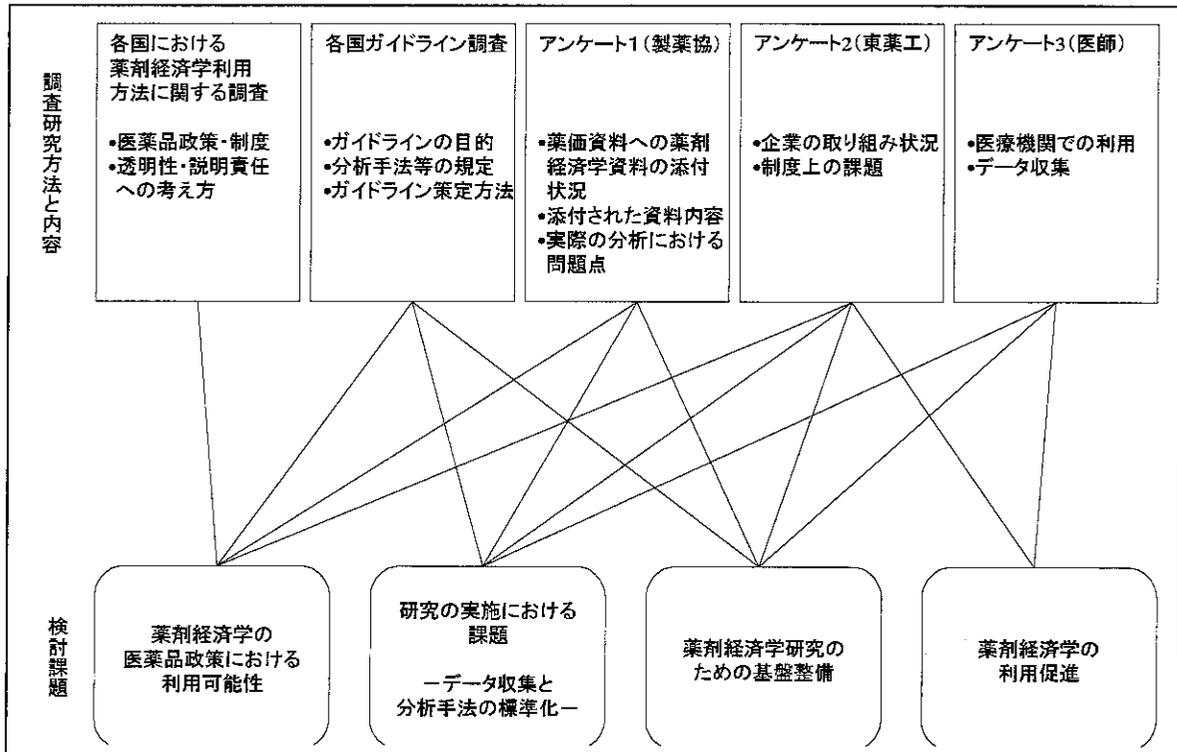
以上に薬剤経済学の概略ならびにわが国における薬価算定における薬剤経済学利用に関する諸議論を述べてきたが、薬剤経済学についての検討課題を以下のように整理した。

- i. 医薬品政策における薬剤経済学の利用方法
 - ・ 利用範囲：公的価格・薬価算定、保険収載・償還率、診療ガイドライン、その他
 - ・ 薬価政策への理念：プロセスの透明性、説明責任
- ii. 研究実施における課題
 - ・ 分析手法の標準化、データ収集のあり方
 - ・ 実際の研究における分析内容やデータ収集方法
- iii. 研究推進のための基盤
 - ・ 研究ガイドライン
 - ・ データ収集のためのシステム：医療機関側の受け入れ、臨床試験のあり方
 - ・ 研究者の育成
- iv. 薬剤経済学の利用の促進と企業の薬剤経済学研究促進につながる制度

これらの検討課題に対する調査研究として以下の5つを実施した。

- i. 各国における薬剤経済学利用方法に関する調査
- ii. 各国ガイドライン調査
- iii. アンケート1：日本製薬工業協会（製薬協と略）会員製薬企業
- iv. アンケート2：社団法人東京医薬品工業協会（東薬工と略）会員製薬企業
- v. アンケート3：日本化学療法学会臨床試験指導者の医師・歯科医師並びに財団法人日本抗生物質学術協議会会員製薬企業

前記の検討課題と調査内容との関係を図示した。



1. 調査研究1：諸外国における医薬品政策での薬剤経済学の利用状況に関する調査

(1) 目的

- i. 医薬品政策における薬剤経済学の利用に関する調査
- ii. 薬剤経済学導入における課題の検討

(2) 方法・内容

- i. 対象国：イギリス、フランス、ドイツ、オランダ、アメリカ、カナダ、オーストラリア（7カ国）
- ii. 公表資料、インターネット等による調査：医療保障制度、薬剤給付制度、開発・マーケティングの規制等
- iii. 各国関係団体への訪問調査ならびにインタビュー：保険者、政府機関、学識経験者
- iv. 保険償還・フォーミュラリ収載、公定価格算定、診療ガイドラインにおける利用状況と当該国における課題
- v. 製薬団体、製薬企業：諸外国における製薬企業の対応状況

2. 調査研究2：各国ガイドライン調査分析

(1) 目的

- i. ガイドライン策定の目的と医薬品政策との関係の検討
- ii. 手法の標準化、データ収集のあり方に関する検討
- iii. ガイドライン策定プロセスの検討とわが国におけるガイドライン策定時の課題・留意点の検討

(2) 方法・内容

- i. 諸外国ガイドラインの収集・翻訳・評価

3. 調査研究3：製薬企業へのアンケート調査

(1) アンケート1：(社)東京医薬品工業協会会員企業を対象とした調査

i. 目的

- ・企業の取り組み状況
- ・わが国現行制度上の課題の整理・検討
- ・薬剤経済学研究の進展のための企業インセンティブと課題の検討

ii. 方法

- ・対象：東薬工会員企業
- ・往復郵送方式
- ・平成13年1月10日～26日

(2) アンケート2：日本製薬工業協会会員企業を対象とした調査

i. 目的

- ・薬価資料としての薬剤経済学資料の添付状況
- ・添付された資料の内容の検討
- ・分析における課題および今後の研究推進における課題の整理・検討

ii. 方法

- ・対象：製薬協加盟企業の製品中、1997年4月～2000年11月に薬価収載された120品目
- ・往復郵送方式
- ・平成13年1月10日～26日

(3) アンケート3：日本化学療法学会臨床試験指導者の医師・歯科医師並びに財団法人 日本抗生物質学術協議会会員製薬企業

i. 目的

- ・医療機関における薬剤経済学への関心、利用の可能性に関する調査

- ・医療機関、臨床試験に付随したデータ収集のあり方・課題の整理・検討
- ・医師と製薬企業側の薬剤経済学への関心の相違に関する調査

ii. 方法

- ・対象：(1) 日本化学療法学会臨床試験指導者の医師・歯科医師
(2) 財団法人日本抗生物質学術協議会会員製薬企業
- ・往復郵送方式
- ・平成 13 年 2 月 25 日～3 月 31 日

(4) 政策提言：わが国における薬剤経済学利用の可能性ならびに研究発展のための諸条件
上記調査研究 1～3 を総合的に考察し、わが国の医薬品政策における薬剤経済学利用の可能性ならびに課題の整理を行い、健全発展のための諸条件、今後の研究課題についてまとめた。

IV. 諸外国の医薬品政策における薬剤経済学の利用とわが国への適用

1. 諸外国の薬剤経済学の利用状況

調査対象とした 7 カ国における利用状況ならびに公的ガイドラインの有無について表 2 にまとめた。

公定価格決定の資料としてなんらかの形で薬剤経済学が用いられている国は、オーストラリア、フランスである。とりわけオーストラリアは、政策レベルで薬剤経済学が用いられるようになった嚆矢の国である。

オーストラリアにおける医薬品の保険償還～価格決定プロセスは 2 段階で行われる。保険償還の対象となる薬剤は「薬剤給付リスト Pharmaceutical Benefit Schedule; PBS」に記載されたものに限られ、PBS 記載可否の判断は薬剤給付助言委員会 Pharmaceutical Benefit Advisory Committee; PBAC において行われる。この際に、PBAC は製薬企業から提出された資料により判断がなされる。価格については、薬剤給付価格設定委員会 Pharmaceutical Benefit Pricing Authority; PBPA にて決定されるが、企業からの薬剤経済学データは、PBAC への提出のみであり、PBPA は PBAC からのアドバイスを受けるにとどまっており、価格決定に薬剤経済学データがどの程度反映されるかについては不明確である。

フランスでは、入院医療で使用される医薬品については、企業の自由価格であり、外来処方医薬品のみ公定価格となっている。外来処方薬については医薬品経済委員会において価格が決定されるが、この段階で企業から提出された薬剤経済学資料が参考にされる。しかしながら、薬剤経済学資料の提出は必須ではなく、あくまでも参考にとどまっている。

表 2. 諸外国（7カ国）における政策への薬剤経済学の活用

国名	薬剤経済学の利用		公的 ガイドライ ン	備考
	外来処方薬の 価格設定	償還可否		
イギリス	×	△	有	99年設立のNICEにおいてガイドラインを作成。経済的評価を含む幾つかのポイントを評価基準とし、医療技術使用の是非をNHSに推奨している。
フランス	△	△	有	CEM（価格設定）における価格交渉材料の一つだが、PEデータの義務付けはなく、価格に反映された例もまだない。99年にCEM等にアドバイスするPE専門家グループが組織された。
ドイツ	×	×	学界レベル で作成。	1999年発行の「Pharmaceutical Guideline」に、費用対効果の項目が明示されたが、Guideline自体が製薬企業からの訴訟により不履行となった。
オランダ	×	△	有	99年CVZがガイドライン作成。償還過程における判断材料の一つとしてPE導入を検討中だが、PEデータ提出の義務付けは関係団体間で温度差がある。
アメリカ	×	マネージドケアの フォーミュラ取 載など	PhRMA, FDA, マネージド ケア組織等	各マネージドケア組織のフォーミュラリへ、製薬企業が自社品を掲載させるためにPEデータを用いる。そのため、製薬企業のPE研究への体制整備も進んでいる。
カナダ	×	○	有	価格設定は連邦政府が行う。各州作成のフォーミュラリ取載に、PEデータ提出が義務付けもしくは推奨されている。
オーストラリア	△	○	有	世界初の公的ガイドラインを公表し、新薬及び効能追加品についてPEデータ提出をPBAC（償還）に義務付けている。PBACはPBPA（価格）に勧告。

○=活用、△=参考 or 検討中、×=活用せず

前述の通り、外来用医薬品の保険での公定価格決定の参考に用いている国は、これら 2カ国であるが、価格設定の参考、加算の参考に用いられるにとどまり、両国とも価格設定に直接薬剤経済学を用いているわけではない。

カナダでは、価格決定は連邦政府で行われるが、このレベルでは薬剤経済学資料は用いられない。保険取載システムは各州毎に異なっているが、一部の州では、保険薬リストの取載に薬剤経済学が用いられている。

米国では、医薬品価格は自由価格でありが、医療機関、HMO への価格交渉、フォーミュラリ取載のための資料として用いられている。一部のHMOではフォーミュラリ取載において薬剤経済学資料提出が義務付けられているところもある。

薬剤経済学の利用形態を大まかに分類すると、公定価格決定の参考に用いている国、保険償還可否の判断に用いている国（およびその両者）に分けられる。

英国は、NICEにおける医療技術評価の資料として薬剤経済学資料が用いられているが、保険償還の意思決定ではなく、医療技術評価に基づく診療指針（ガイドライン）の資料として用いられている。

2. わが国への適用可能性

現在、わが国では、新薬の薬価算定において薬剤経済学の適用可能性についての議論が中心となっているが、諸外国の事例をみるように薬価算定に直接用いることは困難と考えられる。

薬剤経済学の分析結果は、増分費用/効果比で示すことが一般的である。増分費用/効果比は、例えば、1年の追加生存年や1質調整生存年の価値（閾値）が決まっていれば、新薬の増分費用/効果比がこの閾値以内であれば、この新薬の導入は効率的であると考えてよい。新薬の薬価が決まっていない場合は、海外価格や原価などから暫定的な価格をベースライン値として分析し、その価格を変動させる感度分析を行うことになる。この考え方に基づけば、保険収載意思決定に用いることは比較的容易であると考えられる。

その一方で、薬価算定に薬剤経済学分析結果を適用することは、理論的には、閾値を超えない上限を新薬の薬価とすることは可能であるが、わが国のこれまでの薬価算定が必ずしも合理的に行われてこなかったこと、ならびに度重なる薬価改定の結果、比較対照となる医薬品の薬価のばらつきなど、比較対照の薬価自体に問題があることから、実際上は問題が多いと考えられる。他にも薬価算定のためには、分析のためのデータが不十分なことが多く、分析手法、分析結果の標準化の困難性から一元的に価格設定することは困難であると思われる。

したがって、薬価決定にとどまらず、保険償還、適正使用・診療ガイドライン、情報提供など広範にわたる医薬品政策の中で、薬剤経済学の利用可能性をより広く検討する必要があるものと考ええる。

(1) 薬価算定における薬剤経済学利用の可能性

上述の通り、薬価そのものを算定することは困難であるが、フランスの ASMR のようにわが国においても加算有無ならびに加算率の設定に用いることは可能である。

加算率設定に用いる場合も、各薬効群での標準的な比較対照に対する増分費用/効果比と加算率との関係についての基準を定める必要がある。海外価格調整は必要ではあるが、加算を超えるものであれば加算の意味が失われかねないことに留意すべきである。

(2) 保険償還での利用

現在わが国では、政策レベルでは保険償還と薬価算定の意思決定は同一レベルでなされている。生活改善薬の登場により、今後すべての医薬品が保険償還されるとは限らない。しかしながら生活改善薬と分類されるものであっても、薬剤経済学的に価値が高いものもありうる。

また、将来、保険者毎に個別の保険薬リストを保有する場合には、リスト収載のための資料として薬剤経済学が利用される可能性がある。

(3) 医薬品使用に関する情報

また、個々の医療機関における医薬品採用やクリニカルパス作成の際の資料として用いることができる。このような利用のために、医療機関への情報提供を促進していくべきである。個別医療機関レベルだけでなく、地域、国レベルでのより効率的な医薬品使用を進める手段として診療ガイドラインの作成が進められることが期待され、その資料の一部として薬剤経済学資料の使用が考えられる。

(4) 適用／政策決定プロセス

薬剤経済学の政策利用をどのように行うかについては、引き続き議論が必要であるが、政策決定の透明性を高め、説明責任を明らかにするための手段の一つとして、薬剤経済学の利用は進めていくべきである。

透明性を高めるためには、どのような資料をもとに意思決定がなされたのかについて公表されるべきである。財政へのインパクトへの関心は持つべきであるが、限られた資源のもとで、最も質の高い医療を提供することが目的とされるべきであり、費用削減のみに関心が持たれるべきではないことについて関係者の理解が高まることが期待される。

V. わが国における薬剤経済学研究の現状と課題

1. 研究の現状

(1) 公表論文の現状

製薬協アンケートでは、調査期間中に薬剤経済学資料の添付のあった 37 品目中、公表したものは 6 品目のみであった。公表しなかった理由の大半は「公表の必要がない」であり、その他の理由として「対照薬提供会社との契約」、「商用データベースの使用」であった。

わが国においては、薬価資料については公表が義務づけられていない。また、プロモーションに使用する資料は医薬品公正取引規約において公表された資料に基づき作成されることが求められているものの、現在のところ、医療機関側において薬剤経済学資料を医薬品採用・使用の判断材料に用いることが一般的ではなく（東薬工アンケートで 19%にとどまる）、製薬企業もプロモーションへの使用は一般的ではない。そのため、公表数が少ないものと考えられる。しかしながら、公表により第三者評価がなされないことが質の向上につながらないともいえ、今後、わが国においても結果公表の進むことが望まれる。

(2) 論文公表のための今後の課題

i. 対照薬提供会社との契約

RCT 対照薬提供時に薬剤経済学分析を行うことの業界内の相互理解が進むことが望まれる。

ii. 研究者と企業との関係

薬剤経済学研究は、データの収集、モデリング構築などにおいて分析者の恣意性が入りやすい。企業のスポンサーにより実施する場合には、分析薬剤に有利な分析が行われないことを保証し、結果の如何により公表が妨げられることのないよう契約を締結する必要がある。製薬企業から研究者への分析依頼のルールを確立する必要がある。

iii. 公表論文使用のための基準

医薬品のプロモーションコードにて、直接比較が実施された論文のみがプロモーションに使用できることとなっている。薬剤経済学研究では、直接比較の臨床試験ではなく、公表臨床論文をもとにモデリングによる分析が行われることもある。

公表論文をプロモーションに用いる場合には、結果の解釈が偏ったものにならないようプロモーション利用に関する規定が作成されることが望まれる。あわせて、臨床医の批判的吟味を容易にするよう、BMJ (British Medical Journal) のような論文公表に関する基準が作成されることも検討が望まれる。

2. 分析手法と結果の表示

(1) 分析手法と成果の表示

薬剤経済学的研究では、評価対象となる医薬品について、複数の代替案間での比較を行うこと、費用と成果とを同時に比較することがポイントであり、一般に、費用最小化分析、費用-効果分析、費用-効用分析、費用-便益分析の4手法が用いられる。研究目的によっては、成果のみあるいは費用のみの検討を行ったり、代替案との比較ではなく単一の治療方法の検討のみが行われることもある。費用のみの検討は完全な経済評価とはいえないものの、ある治療技術がどのような費用あるいは医療資源を必要とするかを明らかにしたり、政策面から医療費へのインパクトへを推測するための目的で実施されることも多い。

薬価資料に添付された研究内容をみると、わが国では費用-効果分析が最も多く実施されていた。これは、医薬品の臨床試験から得られる成果に関する情報が医学的成果を中心としていることで費用-効果分析の実施が容易であることが主な理由と考えられる。

また効果指標としては、治癒期間、入院期間、腫瘍縮小率、生存年など多様な指標が用いられており、これも臨床試験から得られたデータに依存しているものと考えられた。生存年のような疾病間、薬効間の比較が可能となる共通指標を用いることは、政策決定をより合理化することになると考えられるが、その一方で、短期的な治癒効果が期待されるような疾患や生存年には影響は少ないがQOL改善が期待されるような医薬品では、生存年だけではかならずしも十分な評価につながらない場合もある。そこで、薬効毎に効果の指標を標準化しておくことも必要であると考えられる。また、すべての疾病、治療について共通の指標となる生存年を質で調整した指標である質調整生存年による費用-効用分析の適用も必要になる。

こうした理由から、諸外国のガイドラインでは費用-効用分析が推奨されているが、費用-効用分析はわが国では実施されていなかった。この理由は、第一に、効用値換算のできるQOL質問表の開発も含めて、効用値の計測手法がわが国で未確立であったことがある。また、最近になって効用値換算のできる日本語版QOL質問表（例えばEQ-5D）が開発されたが、医薬品による症状変化を捉えがたいことや臨床試験での効用値計測がわが国でなじんでいないため、臨床試験での効用値計測はまだ一般的になっていない。

社会的立場からの政策決定においては、すべての疾病、治療について共通の指標となりうる質調整生存年での成果が表示される費用-効用分析は最も強力な分析手法と考えられ、今後、わが国でも、効用値の計測手法の確立と併せ研究が進められることが期待される。

(2) 分析時間軸(time horizon)とモデリング

医薬品の効果は、例えば降圧剤における血圧値のような中間的指標（surrogate endpoint）と血圧コントロールによる脳卒中発症抑制とそれによる延命などの最終的指標（final endpoint）とがある。臨床試験においては、開発段階で「効かない」医薬品を排除する目的から中間的指標での評価が中心であるが、薬剤経済学においては、最終的指標での分析が求められる。医薬品の成果を適切に評価できる分析の時間軸設定は重要である。

しかしながら、開発段階の臨床試験では、最終的指標の評価は困難であることが多く、そのため、薬剤経済学では、臨床試験での中間指標をもとにモデリングにより長期予後の予測を行うことが多い。こうした長期予後も含めた分析では、時間選好についても考慮しなければならず、割引計算が必要である。

また、臨床試験は管理された状況のもとでの医薬品の効能（efficacy）の評価であり、当該医薬品が一般的な状況のもとでの有効性（効果 effectiveness）とは異なることもある。そこで、薬剤経済学では、臨床試験成績をもとに、やはりモデリングによる疾病推移モデルでの分析が必要になることがある。

わが国の研究状況をみると、モデリングが適用されているものは36品目中18品目（1品目無回答）で半数にとどまっていた。モデリング実施の有無と分析の質と関係するとはいえないものの、臨床試験での限られたデータをもとにした分析結果で新薬の経済的価値を一般化することは困難である。ただし、モデリングが妥当なものであるかどうかの吟味ができるよう、モデルの作成プロセスや諸条件を明らかにしておくことが必要である。

また、割引計算が実施されたものは、37品目中7品目であった。効果指標として臨床試験での評価指標を用いていることに対応して、分析時間軸が1年以内であることが理由と思われる。

医薬品の成果が短期間で評価される場合や、本来、長期にわたり使用される薬剤にも関わらず、長期予後を推計するための信憑性の高いデータの入手が困難な場合は、必ずしも長期の時間軸での分析が理想的とは限らない。その場合は、時間軸設定の根拠を明示するとともに、分析結果の長期予後への外挿可能性について考察することが望ましい。