

入院の比率が低く見積もられている可能性(インフルエンザのコードが付けられない(例えば肺炎と付けられる)ため

12 日間の追跡なので平均値が出せず中間値を使った(Zanamivir の 13%、対照群の 38%はまだ症状が残っている。

60%の患者は医者に行かない、医者に行った患者の 60%は 36 時間以上立ってから言っているという実態。

厚生科学研究費補助金（政策科学推進研究事業）  
分担研究報告書  
諸外国における薬剤経済学研究ガイドラインの比較検討

分担研究者 慶應義塾大学医学部 池田 俊也

研究要旨

オーストラリア、カナダ、ノルウェー、英国、オランダ、ポルトガル、フィンランドの公的ガイドラインを入手し、取り扱われている項目（分析の立場、分析手法、比較対照治療法、費用、アウトカム、モデル化の必要性、将来の費用及び効果に対する割引、感度分析、等）及びその内容を比較した。各国のガイドラインで取り扱われている項目はほぼ共通していたが、内容については、項目により概ね一致するもの（分析の立場、モデル化の必要性等）、若干の相違が見られるもの（分析手法、費用等）、大きく異なるもの（将来の費用及び効果に対する割引等）と様々であった。国際的にコンセンサスの得られていない部分がある以上、わが国独自のガイドラインを作成する必要がある、これにより研究の質を保ち、研究結果の比較可能性を保つことができ、またそれらの研究結果を政策決定等に有効に活用することが可能になると考えられる

A. 研究目的

1992年、オーストラリア政府は、新薬の保険償還(reimbursement)の可否の判断および薬価算定に役立てるため、経済評価研究のガイドラインを公表し、薬剤経済学資料の提出を必須とした。その後、カナダの一部の州、フィンランド、オランダ、ポルトガル、ノルウェーでも、新薬の保険償還の可否の判断等の際に薬剤経済学資料の提出が必須とされ、公的なガイドラインが作成された。英国では、主に高額医療技術等を対象として、NICE (National Institute for Clinical Excellence)が臨床的エビデンスならびに経済的エビデンスの評価を実施しており、経済評価ガイドラインが公表されている。

わが国でも薬価算定等の政策決定等の際に薬剤経済学研究の活用可能性が議論さ

れてきており、研究ガイドラインの導入に

ついては検討する必要がある。そこで本研究では、各国の公的ガイドラインの比較を行い、研究ガイドラインに必要な項目や内容の相違点について検討を行った。

B. 研究方法

第一に、インターネットを中心に、上記ガイドラインに関する資料の収集を行い、情報の抽出を行った。インターネットにてガイドライン本文の入手が可能であったのは、オーストラリア、カナダ(CCOHTA)、ノルウェー、英国(NICE)の4種類であった。オランダ、ポルトガルは当局より直接資料を入手した。フィンランドは、原文の入手はできなかったため、英訳された資料をもとに検討を行った。

### C. 研究結果

ガイドラインのレビュー結果を添付資料に示した。

分析の立場は、英国以外では共通して「社会の立場」を採用していた。

分析手法は、費用-効果分析(CEA)、費用-効用分析(CUA)が共通して取り上げられていたが、費用最小化分析(CMA)、費用-便益分析(CBA)を併記する国もあった。なお、カナダでは費用-帰結分析(CCA)、ノルウェーでは費用-価値分析(CVA)を推奨しているのが特徴的であった。

治療法の比較は、現状でもっとも利用されている標準的治療法が共通してあげられていたが、あわせて最も廉価な治療法や無治療をあげる国もあった。

費用は、英国 NICE では当該疾患に関連する医療資源消費のみを算出対象としていたが、他の国では医療費以外の直接費用も対象にしていた。オーストラリア、フィンランド、ノルウェーでは、間接費用を含めることは推奨されていなかった。

アウトカムは、臨床試験で観察される「効能」ではなく、実際の医療現場における「効果」を測定することが強調されていた。またデータ源は RCT またはそのメタ分析が一般に推奨されていた。

モデル化の必要性は、いずれの国でも言及されていた。また、時間範囲は、当該治療に関連する主な費用および効果のすべてを捉える十分な長さが必要との点で共通していた。

将来の費用およびアウトカムの割引は、国により年率が異なっていた。費用と効果(便益)で年率が異なるのは、英国のみであった。ノルウェーでは、ベース(基準)の値も定められておらず、2.5～5%の間のいずれかの値とされていた。

結果の報告は、増分費用/効果値の記載

については各国とも要求していた。総計および分解した詳細の報告を求める国や、標準報告書式を提示する国もあった。

感度分析についてはいずれの国でも言及されていたが、オーストラリアと英国では、感度分析の範囲について詳細な規定が示されていた。

財務的影響に関する分析は、オーストラリア、カナダ、英国で求められていた。

### D. 考察

各国のガイドラインでは、取り扱われている項目はほぼ共通していた。具体的な規定については、概ねコンセンサスが得られているもの(例えば、分析の立場や、モデル化の必要性)、若干の相違が認められるもの(例えば、分析手法や、費用)、大きく異なるもの(例えば、将来の費用およびアウトカムの割引)とさまざまであった。

国際的にコンセンサスが得られていない領域については、わが国独自のガイドラインを提示しない限り、研究の相互比較が困難になる可能性がある。特に、将来の費用およびアウトカムの割引は、国により年率の設定が異なっていた。分析対象の薬剤が慢性疾患を対象としたものや、長期にわたる合併症を引き起こしたり予防したりする場合には、割引の年率を変化させることにより分析結果が大きく変わってしまう可能性がある。また、外国の疫学データ等を参考にする場合などに、わが国への適用可能性をどのように検証するかといった問題も、最低限の遵守すべき基準を定めておくことが望ましいと考えられる。

わが国における研究結果を政策決定等に有効に活用するためには、研究の質を保ち、複数の研究結果の比較可能性を保つことが重要であり、このためには研究ガイドラインの作成が必要であると考えられる。

## 国名

オーストラリア

## 発行者

保健省 (Commonwealth Department of Human Services and Health)

## 発行年

1992年8月(初版)  
1995年11月(第2版)

## ガイドラインの目的

製薬企業が、薬剤給付助言委員会 (The Pharmaceutical Benefit Advisory Committee, PBAC) への申請書を準備するためのガイドライン。臨床的効果のデータの提示と最適な経済評価の形式について指示を与える。

## 分析の立場

RCTの結果に基づく予備分析およびモデル分析の両者とも、社会の立場。財務的影響の分析は薬剤予算および政府医療費の立場。

## 分析手法

CMA、CEA、CUA。

## 治療法の比較

(同じ治療分野に属する)最も多くの患者に処方された治療法。

## 費用

直接医療費。間接費用を含めることは推奨しないが、算出した場合は分けて示すこと。「費用マニュアル」(機会費用)が準備されている。代替的にDRGリスト使用可。

## アウトカム

予備分析では、比較対照との相対的な臨床効果を最も反映するアウトカム。  
モデル分析では、最終アウトカム。選択されたQOL

尺度は有効で、信頼でき、個人間の健康状態の相違に対応できるものでなくてはならない。

## データ源

比較対照との直接比較のRCTが理想的。RCTまたはメタ分析のデータをもとに、予備分析を実施。

## モデル化

①中間アウトカムを最終アウトカムに変換、②治験期間終了後のアウトカムを推定、③治験対象患者と上市後に投与される患者の違いを補正、④他国の資源利用パターンをオーストラリアの状況に補正、⑤治験で観察された資源利用パターンを補正。

## 時間範囲

モデル分析では、経過観察に適切な期間。

## 割引(将来費用およびアウトカム)

ベースは年率5%、感度分析は0%を含む。

## 結果の報告

予備分析:結果は増分比で示す。  
モデル分析:結果は分解様式(資源利用とアウトカムの自然単位、資源利用の金銭単位)、合計様式(資源利用とアウトカム、割引ありとなしで)、増分比で示す。

## 感度分析

予備分析:両者のアウトカムの差の95%信頼区間で、感度分析。  
増分費用/効果比の95%信頼区間を示す。(臨床試験をもとにした)予備分析の主なアウトカム変数すべてと、モデルの主な仮定を変化させる。

## 財務的影響

薬剤予算および政府医療費に対する財務的影響を推定すること。

## 報告様式

## 国名

カナダ

## 発行者

医療技術評価調整局(CCOHTA)  
(保健省、産業界、学識者と共同)

## 発行年

1994年11月(初版)  
1997年11月(第2版)

## ガイドラインの目的

分析の利用者に対して標準化され信頼しうる情報を提供するために、分析実施者の補助をする。

## 分析の立場

社会の立場、財務的影響は州政府の立場。

## 分析手法

当該薬剤が比較対照と効果の差がない場合は、CMA。差がある場合は、CCA (cost-consequence analysis) に加え、CEA、CUA、CBA のうち一つ以上。CUA と CBA が好ましい。

## 比較対照

現在の治療法(最も利用される治療法または市場シェアで重み付けした現状治療)、および最低限の治療法(最も廉価な治療法または無治療)。

## 費用

当該治療に関連しうるすべての関連費用(直接費用および間接費用)を含めること。「費用計算のためのガイドンス」が準備されている。

## アウトカム

効能ではなく効果が理想的。CUA の効果単位は QALY が推奨される。CBA でのアウトカムへの価値付けには仮想市場法が好ましい。

## データ源

データ収集は正しく定められた方法に従う。

## モデル化

効果データが入手できない場合に使用。モデルの構造と性質を記述する。

## 時間範囲

すべての関連アウトカムを把握するのに十分な長さが必要。

## 将来費用およびアウトカムの割引

ベースは年率5%、感度分析に0%、3%を含める。

## 結果の報告

増分費用/効果を報告。結果は順序だてて、最後に集計様式で示すこと。関連する代替案ごとに、臨床アウトカムの確率樹を記載。

## 感度分析

不確実性の問題に明瞭に対応する必要がある。モンテカルロシミュレーション等の使用が奨められる。

## 財務的影響

意志決定によりおもに影響を受ける組織の立場(州政府)での財務分析を実施すべきである。

## 利用できるテンプレート

標準報告様式。

## その他

公平性、移転可能性、スポンサーとの関係の明示について言及。

## 国名

フィンランド

## 発行者

社会問題・衛生省

## 発行年

1999年5月

## ガイドラインの目的

---

## 分析の立場

社会の立場。

## 分析手法

CMA、CEA、CUA、CBA。手法選択の理由を述べる  
こと。

## 比較対照

当該製品によって置き換えられる製品、利用可能な製  
品中最も優れたもの、最も簡便な診療と比較。

## 費用

すべての直接医療費。間接費用を算出する場合は、直  
接費用と分けて報告する。フィンランドの治療内容と  
費用に対応するように治療内容と費用を調整する。

## アウトカムの測定

---

## データ源

RCTまたはRCTのメタ分析。使用した研究の選択基  
準を説明すること。

## モデル化

通常の治療状況を反映したデータが入手できない場  
合、モデル化が可能。

## 時間範囲

関連する将来の費用および効果すべてを得るに十分  
な長さが必要。

## 将来費用およびアウトカムの割引

ベースは年率5%。感度分析は0%。

## 結果の報告

増分費用/効果比と総計とを示す。間接費用を除外し  
た場合も示すこと。

## 感度分析

結果または潜在的なデータが不確実な際に行う。

## 財務的影響

---

## 報告書式

---

## 国名

オランダ

## 発行者

医療保険協議会 (Health Insurance Council)

## 発行年

1999年3月

## ガイドラインの目的

薬剤の治療上の価値について信頼性があり、再現可能で証明可能な洞察を行う薬剤経済学的研究のために最先端の方法論のガイドラインを与える。

## 分析の立場

社会の立場。

## 分析手法

CEA、CUA。CBAは推奨されていない。

## 比較対照

標準的治療法(通常の診療で第一選択として使用される治療法)と比較。

## 費用

すべての直接費用(医療システムの内外を問わず)を示すこと。医療システム内での間接費用は当該治療に関連する将来医療費のみ含める。生産性損失は人的資本法ではなく、摩擦費用(friction cost)法で算出する方がよい。「標準費用リスト」が準備されている。

## アウトカム

効能ではなく効果が理想的。CUAには、SG、TTO、VAS、EuroQol、HUIを使用。

## データ源

可能なら、データは現実的な条件下で収集すべき。

## モデル化

①効能から効果を推定する場合、②他国のデータを適

用する場合、モデル化が必要。

## 時間範囲

治療による費用と効果をすべて得るのに十分な長さが必要

## 将来費用およびアウトカムの割引

ベースは年率4%。

## 結果の報告

増分費用/効果比。総計も報告。分解した詳細(QOLと生存率、単価と量)を報告すること。報告は標準書式に沿うこと。

## 感度分析

条件や仮定が不確実な場合、感度分析が行われる必要がある。最低でも一変量解析が必要。

## 財務的影響

財務分析は薬剤経済学的研究に含まれない。

## 利用できるテンプレート

薬剤経済学分析報告のための標準書式が添付されている。

## 国名

ポルトガル

## 発行者

国立医薬研究所 (Pharmacy and Medicines Institute, INFARMED)

## 発行年

1998年11月

## ガイドラインの目的

基準となる原則を多数提供する。研究の質を高いものにするために実施者の技術的能力を向上させる。

## 分析の立場

社会の立場。

## 分析手法

CMA、CEA、CUA、CBA。

## 比較対照

通常の診療および／または最も効果的または最も廉価な治療法と比較。

## 費用

治療に関連する、すべての直接費用および間接費用。間接費用は生産性損失のみ算出。理想的には、評価は使用した機会費用を反映するべき。代替としては標準的原価計算が適当。費用と量を別々に報告する。

## アウトカム

中間アウトカムを用いる場合、正当化が必要。効能を先に示し、次に効果を示す。QALYの測定にはSG、TTO、EQ-5Dなどを用いる。CBAには仮想市場法を用いる。

## データ源

RCTより得られた結果が望ましい。RCTより得られたメタ分析は使用可。

## モデル化

短期から長期に伸長する際にモデル化が必要。

## 時間範囲

どの時点で発生したかに関わらず、費用と結果をすべて把握すること。

## 将来費用およびアウトカムの割引

ベースは年率5%。感度分析では3%を使用。

## 結果の報告

関連するすべてのデータを分解様式で記す。間接費用を除外した結果も示す。標準書式に沿うこと。

## 感度分析

不確実なパラメータにはすべて感度分析を施す必要がある。感度分析の範囲の根拠を記す。

## 財務的影響

## 報告書式

テンプレートが付録になっている。



## 国名

ノルウェー

## 発行者

医薬庁 (Medicines Agency)

## 発行年

2002年1月

## ガイドラインの目的

償還申請資料に含める薬剤経済分析を準備するための基準。

## 分析の立場

①社会の立場または医療サービスの立場、②支払い者(国営保険、National Insurance Administration)の立場。

## 分析手法

CMA、CEA、CUA、CVA (Cost-value analysis)。手法選択の理由を述べる。CUAにはCVAを併用するとよい。

## 比較対照

最も利用される治療法。最も廉価な治療法および/またはその他適当と考えられる治療法。

## 費用

薬剤利用に関連するすべての直接費用を含めること。間接費用は直接費用とは分けて報告する。費用計算はノルウェーの状況を反映させる。

## アウトカム

効果が理想的。効果研究が利用できない場合は効能。分析手法に関連した効果単位を用いる。

## データ源

直接比較のRCTが推奨される。疫学研究も有用。メタ分析がしばしば最適。海外データはノルウェーに適用できるかを検討。

## モデル化

健康結果や費用が測定不可能または直接測定不可能な場合に有用。判断樹、マルコフモデルなど。モデルの基本となる条件、前提、データを明示すること。

## 時間範囲

①臨床試験で確認された効果の期間、または、②治療に関連する主な費用および効果の全てを取り入れる長さ。

## 将来の費用およびアウトカムの割引

ベースは年率2.5~5%の間のいずれかの値。感度分析では0~8%。

## 結果の報告

増分費用/効果比と総計を報告。

## 感度分析

すべての主なパラメータには感度分析を行う。一変量解析でもよいが二変量、三変量がさらによい。

## 財務的影響

## 報告様式

簡単な報告様式が添付されている。

## 国名

英国

## 発行者

国立臨床効果研究所 (National Institute for Clinical Excellence, NICE)

## 発行年

2000年6月

## ガイドラインの目的

製造者やスポンサーに提出物準備の基準を与える。

## 分析の立場

国営医療サービス (National Health Service, NHS) と個人的社会サービス (Personal Social Services, PSS) の意志決定者の立場。

## 分析手法

CEA または CUA。

## 比較対照

最も頻繁に使用される治療法と比較。

## 費用

当該疾患に関連する医療資源消費。無関係の状態の治療に要する医療資源は含まない。患者が利用する資源 (時間・交通など) は、別に記録する。各治療ごとに要する資源を個別に提示する。単価は NHS と PSS の平均費用を用いる。

## アウトカム

長期の臨床効果 (罹病率と死亡率) に、各病態の患者による健康状態の自己評価を組み合わせることが推奨される。

CUA における効用値は、英国の一般集団の価値付けが最適。

社会生産性への影響を評価してもよい。

## データ源

効能よりも臨床効果と費用対効果に関心がある。自然なデザインで行われた RCT が望ましい。

## モデル化

効能データを効果に変換するために必要。どんなモデルでも利用するときにはその性質を詳説すること。

## 時間範囲

主な健康上の効果と医療資源の利用が発生すると見込まれる期間を対象とする。

## 将来の費用およびアウトカムの割引

ベースは、費用を年率 6%、便益を年率 1.5%。感度分析では、①費用と便益は 6%、②費用 6%、便益 0%。

## 結果の報告

増分費用/効果比と、各代替案の総費用と総効果を示す。結果は分解した様式 (たとえば QALY は生存年と QOL に分解) でも示す。費用も、量と単価とを別に示す。

## 感度分析

可能な場合は実施する。臨床試験からデータが得られた場合には、95%信頼区間を算出。さまざまなデータ源による場合、probabilistic 感度分析が推奨される。

## 財務的影響

NHS 予算に与える影響を記す。新しい技術に関しては、3~5年単位で与える影響を検討。

## 報告書式

標準報告書式が添付されている。

## その他

普遍性 (結果が NHS に当てはまるか)、公平性について言及。

厚生科学研究費補助金（政策科学推進研究事業）

分担研究報告書

分担研究者 池田 俊也 慶應義塾大学医学部

研究要旨

新薬の承認に際し企業からの薬剤経済学データの提出を受けているフランス医療材料保険安全庁の医療経済部門の担当者を訪問し薬剤経済学データの活用状況と課題について、聞き取り調査を実施した。フランスでは1999年6月以降、製薬企業から提出された薬剤経済学資料をこれまで20件評価しているが、薬剤経済学データはあまり参考にされておらず、償還率や薬価決定には活かされていないとのことであった。フランスでは研究ガイドラインが公表されているが、そのみでは研究の質の向上には十分な効果が得られていない。薬剤経済学の質を向上し政策決定に役立てるためには、研究ガイドラインに強制力をもたせることや、薬剤経済学データを政策決定プロセスに公式に取り入れるなどの対応が必要であると考えられた。

目的

わが国と医療保険制度の類似点が多いフランスにおいて、薬価決定や償還可否の判断に際して薬剤経済学データがどのように活用されているかを把握することを目的とした。

方法

新薬の承認に際し企業からの薬剤経済学データの提出を受けているASFFAPS（フランス医療材料保険安全庁）の医療経済部門の担当者を訪問し、薬剤経済学データの活用状況と課題について、聞き取り調査を実施した。

結果

フランスでは、保険償還可否の判断や償還率の決定は「透明化委員会」が行い、薬価決定は「医薬品経済委員会」が行っている。1999年6月に組織された医療経済専門家委員会は、製薬企業から提出された薬剤経済学資料を評価・審査し、両組織に評

価結果を報告する役割を有している。

医療経済専門家委員会 2001年11月の時点では9名の経済学者で構成されており、これまでに20件の審査を行い、透明化委員会および医薬品経済委員会に報告を行った。しかしながら、両機関は薬剤経済学データをあまり参考にしておらず、償還率や薬価決定には活かされていないとのことであった。

また、1997年4月に研究ガイドラインが公表されたが、ガイドラインに強制力がないので影響力がなく、結果として研究の質の向上にはつながらなかったことが、問題点として指摘された。

訪問調査のインタビュー記録、および、フランスの経済評価ガイドライン（章立ておよび勧告部分のみを訳出）を参考資料に示した。

## 考察

政策決定において薬剤経済学データを利用するためには、研究の客観性や透明性を高める必要がある。しかし、フランスの場合には、研究ガイドラインの作成のみでは

研究の質の向上には十分な効果が得られていなかった。薬剤経済学の質を向上し政策決定に役立てるためには、研究ガイドラインに強制力を持たせることや、薬剤経済学データを政策決定プロセスに公式に取り入れるなどの対応が必要であると考えられた。

## フランスにおける薬剤経済学の活用状況（訪問調査）

池田俊也 慶應義塾大学医学部

亀井美和子 日本大学薬学部

### 目的

わが国と医療保険制度の類似点が多いフランスにおいて、薬価決定や償還可否の判断に際して薬剤経済学データがどのように活用されているかを把握することを目的とした。

### 方法

新薬の承認に際し企業からの薬剤経済学データの提出を受けている ASFFAPS（フランス医療材料保険安全庁）の医療経済部門の担当者を訪問し、薬剤経済学データの活用状況と課題について、聞き取り調査を実施した。

### 結果

フランスでは、保険償還可否の判断や償還率の決定は「透明化委員会」が行い、薬価決定は「医薬品経済委員会」が行っている。1999年6月に組織された医療経済専門家委員会は、製薬企業から提出された薬剤経済学資料を評価・審査し、両組織に評価結果を報告する役割を有している。

医療経済専門家委員会 2001年11月の時点では9名の経済学者で構成されており、これまでに20件の審査を行い、透明化委員会および医薬品経済委員会に報告を行った。しかしながら、両機関は薬剤経済学データをあまり参考にしておらず、償還率や薬価決定には活かされていないとのことであった。

また、1997年4月に研究ガイドラインが公表されたが、ガイドラインに強制力がないので影響力がなく、結果として研究の質の向上にはつながらなかったことが、問題点として指摘された。

訪問調査のインタビュー記録、および、フランスの経済評価ガイドライン（章立ておよび勧告部分のみを訳出）を参考資料に示した。

### 考察

政策決定において薬剤経済学データを利用するためには、研究の客観性や透明性を高める必要がある。しかし、フランスの場合には、研究ガイドラインの作成のみでは研究の質の向上には十分な効果が得られていなかった。薬剤経済学の質を向上し政策決定に役立てるためには、研究ガイドラインに強制力を持たせることや、薬剤経済学データを政策決定プロセスに公式に取り入れるなどの対応が必要であると考えられた。

## 参考資料1

### フランスにおける薬剤経済学評価に関するガイドラインと勧告

(章立てと推奨部分のみを訳出)

#### 1. 研究環境—視点

##### 勧告1

視点により費用測定方法にはさまざまな方法があるため、疾病金庫や病院などの財政への影響、医療費総額や社会の公衆衛生への影響など、分析の視点についての記述が重要である。用いられる文脈によらず、正当化が必要である。

#### 2. 製品のライフサイクルにおける研究の実施時期

##### 勧告2

製品開発がどの段階にあるか、その結果、当該研究にどのような限界とどのような影響があるかについて説明すべきである。

#### 3. 理論的枠組み

##### 勧告3

薬剤経済学研究は、様々な学問分野で採用される多くの基準や方法を利用する意思決定分析の一部を形づくるべきものである。

#### 4. 環境

##### 勧告4

薬剤経済学評価に予備的記述セクションを設け、公衆衛生と医療費の両面で当該疾病に関して利用可能な主な情報（記述疫学や治療の種類）の概観を記すことが推奨される。本章は必要性に応じて詳細に記す。

#### 5. 対象集団

##### 勧告5

薬剤評価の影響を受ける母集団を明確に記述しなければならない。再取載申請の場合は、実際に当該薬剤で治療されている母集団を記述すべきである。

#### 6. 治療代替案と比較対照の選択

##### 勧告6

処方・治療の方法の多様性を考慮に入れるべきである。複数の治療方針が検討されうる。これを念頭に置いて比較対照を選び、選択の理由を説明しなければならない。

## 7. 研究の種類

### 勧告 7

各評価方法（訳注：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）には、それぞれ独自の適用分野と限界がある。選んだ研究の種類を明確に記述し、明らかにすべき課題に関して正当であることを示すべきであり、研究の冒頭で記さなければならない。利用する研究の種類の変義も示すべきである。

## 8. 時間範囲と他国への外挿

### 8.1 時間範囲

#### 勧告 8

時間範囲は、病気の自然経過とデータの入手可能性の点で、正当化しなければならない。

### 8.2 他国への外挿

#### 勧告 9

疫学、効果、消費資源に関して海外データを利用する場合は、そのようなデータの外挿を正当化しなければならない。

## 9. 費用の変義と計測

### 9.1 直接費用

#### 勧告 10

慣例的に、直接医療費（あるいは便益）は薬剤経済学研究の対象に含まれるが、直接非医療費も研究に関連があると思われる場合には考慮すべきである。すべての場合において、様々な種類の直接費用が詳細に記され提示されるべきである。

#### 9.1.2 計測

#### 勧告 11

費用は、その計算に使用した物理的単位と単価価格とを記述して示すべきである。疾病金庫の観点からすれば、現時点ではプライマリケア費用と入院費用に価値を割り当てるために利用できる分析的会計情報が存在しないため、その時点で用いられている価格表の適用が推奨される。

公立病院の短期入院費用については、できる限り分析的会計データを利用し、包括的費用を用いて（PMSI データベースの）診断群（DRG）ごとに列挙することが推奨される。このプロセスが官民両部門のすべての領域においてより広く適用されるようになるまで、引き続き請求情報や価格表を利用してもよい。

すべての場合において、利用した情報源を記述することが推奨される。

還付率に関しては、利用したものが適用されるべきである。研究対象集団の性質に合わせた補正を行う。

患者の視点からも分析では疾病金庫から還付されないすべての費用（追加的保険適用範囲）も考慮されるべきである。

## 9.2 間接費用

### 勧告 12

間接費用（便益）は検討対象の診断方針や病気がそれを正当化するならば、研究の中で扱ってもよい。すべての場合において、これらの費用を含める理由とその算出方法の正当化をし、直接費用とは別個に提示するべきである。

### 9.2.2 計測

#### 勧告 13

社会の立場からすれば、生産性損失の推計値は、価値を割り当てずに物理的単位（休職日数、休学日数など）で表すことが推奨される。疾病金庫の立場から研究を実施する場合は、公的資金から支出される支払額を計算に含めなければならない。

## 9.3 不可測費用

### 勧告 14

不可測費用（便益）は本来的に直接費用や間接費用とはまったく異なり、これらの費用を合計するのは不適切である。しかしながら、不可測費用は、別個の研究（QOL や WTP など）で検討することができる。

## 10. アウトカムの種類とその測定方法

### 10.1 効果

#### 10.1.1 効果の定義

##### 勧告 15

薬剤経済学研究では、可能な場合は常に、効能（efficacy）よりも実際の使用における効果（effectiveness）が好ましい。効能を使用する場合は、適切な近似算によってこれを効果に換算する試みがなされるべきである。

##### 勧告 16

薬剤経済学研究では最終エンドポイントを優先して使用することが推奨される。中間エンドポイントしか利用できない場合は、モデル化によって、中間エンドポイントと最終エンドポイントとの関係を可能な限り推定すべきである。

#### 10.1.2 最終効果に関連する指標の選択

##### 勧告 17

効果を単一指標で表す場合は、その手法を正当化し、検討対象外の効果の領域について説明することが推奨される。複数の指標を使用する場合は、各指標を統合する手段を明記すべきである。

回避されたイベント数を記述する指標の場合は、その結果が得られた期間を明記すべきである。救命患者数よりも救命年数や増分平均余命の方が好ましい。これらの救命年数は割



引いても割引かなくてもよいが最終的なやり方を可能な限り正当化しなければならない。同様に、延命期間の QOL も適切な指標で記述すべきである。

### 10.1.3 効果の測定

#### 勧告 18

治療効果は、臨床試験、前向き (prospective) や後向き (retrospective) の症例報告など、経済評価のために様々な方法で計測することができる。これらのいずれにも長所も短所もある。可能な限り、既存の試験の概観に検討を加えることが望ましい。すべての場合において、効果を計測するためにある方法が選択された場合、国際的に公表された文献の広範なレビューを参考にして、その方法について考慮し記述しなければならない。

## 10.2 QOL

#### 勧告 19

経済評価では、患者の QOL を測定することがしばしば重要である。この情報は、慣例的な臨床的効能の計測では得られないことがある。QOL の測定は、慢性疾患や再発性疾患の場合に特に適している。

### 10.2.2 QOL の測定

#### 勧告 20

QOL を測定するに当たっては妥当性検証がなされた尺度のみを利用し、包括的尺度を特異的尺度と組み合わせることが推奨される。正当化できる場合は、二つの尺度のうち一つだけを使用することも適当かもしれない。

## 10.3 効用

#### 勧告 21

効用の計測は治療結果の技術的計測とは異なる。効用は個人 (患者や一般人口) の立場から見たアウトカムを表現するもので、意思決定のための新たな基準となる。効用はある種の病気や治療に特に適している場合がある。

### 10.3.2 効用の測定——選好を把握するのに用いる方法

#### 勧告 22

QOL と期間とで規定される健康状態に関する選好を把握するために、利用可能な様々な方法のうち、視覚評価法 (visual analogue scale) は、解釈面で問題が生じるので使用に当たっては注意を要する。従って基準的賭け法 (standard gamble) と時間得失法 (time trade-off) が適切であるが、どちらも独自の特性と限界がある。従って、どちらか一方を選んだ理由を説明しなければならない。

## 10.4 支払い意思

#### 勧告 23

支払い意思法 (WTP) は、薬剤経済学評価においてまだ実験段階にある。すべての場合において、その使用を正当化しなければならない。

## 10.5 統合アウトカム指標

## 勧告 24

治療の結果を効能と QOL の統合指標で表す場合は、後者は個人の選好を反映するのが望ましい。

研究の文脈によっては、一般人口の選好（社会の立場）である場合もあれば、直接関係する患者の選好（患者の立場）である場合もある。

健康状態に適用される効用係数の形をとることもあれば、これらの要因を構築の際に必然的に考慮に入れた QOL 指標から得られることもある。選んだ方法にかかわらず、これらの統合指標の計算方法と選好を表明する個人の状態を記述し、内在する仮定の妥当性を立証することが重要である。

## 11 費用と便益の割引

### 勧告 25

すべての場合において費用を割引くことが推奨される。費用は慣例的な率（2.5%か 5%）を用いて割引いてよいが、これらの数値を変化させる感度分析も実施すべきである。便益を割引く問題については結論が出ていないので割引したものとししないものの両方を示すべきである。すべての場合において、割引していない結果も示すべきである。

## 12 モデル化

### 勧告 26

モデル化は、分析している問題に関する情報が不完全あるいは不適切な場合に治療方針を評価する手段として、完全に受け入れられている。モデル化によって、費用とアウトカムの両方を評価することができる。モデルの基礎となる仮説と推定を説明・記載し、感度分析によってその頑健性を確認すべきである。モデルそのものを内的（所見との一貫性）と外的（該当モデルから得られた結果を実際に観察される変化に適用）の両面で妥当性検証しなければならない。

## 13 感度分析

### 勧告 27

いずれの感度分析でも、主要な変数を把握して正当化するとともに、基準値と各変数を調整する範囲についても正当化すべきである。感度分析は、複数のパラメータで同時に実施することが望ましい。二次元又は三次元分析は理解を深めるのに適当である。（もし多すぎるパラメータが同時に変化した場合、結果の解釈は困難である。）研究から得られた費用の結果と治療効果は統計的分布で表し、特に対応する信頼区間を示すべきである。

## 14 結果の提示

### 14.1 一般的詳細

## 勧告 28

勧告は、本勧告で挙げた様々な課題を考慮に入れた方法で示すべきである。研究結果は治療効果と費用とを区別して、段階的に示すべきである。計算を詳しく示し、正確さと適切さの両方を確認できるようにすることを推奨する。

臨床データ、疫学データ、財務データは研究の妥当性を検証して十分理解する上で重要であるので、これらのデータをすべて提示すべきである。

詳細な参考文献を示すべきである。特に、費用の算出に用いたデータ源を示さなければならない。

研究報告を読みやすくするために、これらの詳細は付録に示してもよい。

研究を委託した機関の名称も、透明性を確保するために明記しなければならない。

## 14.2 比率

### 勧告 29

費用／効果（あるいは費用／効用）比は増分方式で示し、意思決定を助ける基準として使用できるようにすべきである。資源利用の変化を分子に、健康状態に影響を及ぼす変化を分母に示さなければならない。

これらの比率の構成要素（費用と結果）も統計的分布（平均値、中央値、信頼区間など）で示すべきである。

## 14.3 結果の差異化——サブグループ分析

### 勧告 30

対象集団や治療を受けている集団における患者サブグループ分析の結果は、当該患者数が統計的手法によって有意な結果を生み出すのに十分多い場合には、示すことができる。こうした分析の適切性は当初から確立されているべきである。

## 14.4 分布の特徴と公平性の問題

### 勧告 31

集計した結果は、使用した集計手法に潜在する公平性の問題を考慮に入れた方法で示すことを推奨する。

## 14.5 評価の時間枠

### 勧告 32

臨床試験に基づく短期的結果と、モデル化や臨床観察に基づく長期的な結果の両方からなる研究の場合は、集計を行う前にこの二つの時点の結果を個別に示すべきである。

集計がなされる場合には、集計手法とその限界について正当化し、考察しなければならない。

## 14.6 研究提示の標準様式

### 勧告 33

治療戦略の比較評価の結果を示す報告書では、可能な限り、以下の事項を読者に対して明確に示すべきである。

- ・ 取り扱う問題の規模
- ・ 選択された立場（文脈）
- ・ 使用した研究の種類とそれを選択した理由
- ・ 対象集団
- ・ 検討した比較対照
- ・ 分析の基礎となる医学データ
- ・ 検討した各種費用、その出所、単位（物理的指標と価値づけ）
- ・ 治療の様々な効果、その単位、出所
- ・ 割引に使用した手順と方法
- ・ 増分比とその不確実性
- ・ 提示された評価の限界

## 15. 予算管理

### 勧告 34

ミクロ経済学ベースで薬剤経済学評価を実施するだけでなく、当該治療がより広範に実施された場合に、当該治療が主要機関に予算管理面で短期的・中期的に及ぼす影響を推定するために、得られた結果を外挿することは有用である。

これらの推定値は場合によって複雑さの度合いが異なる場合があり、基礎となる仮定と併せて記述すべきである。