

- d. 会議の召集と運営の戦略を決める。
 - e. 対立事項の扱い方と一致に至る戦略を決める。
 - f. 現在進行中の連携を打ちたてる戦略を決める。
3. データステージ
- a. ニーズを特徴づける指標を決める。
 - b. 利用可能なデータの出所を明らかにする。
 - c. 他に必要なデータとそれらを得るための戦略を明らかにする。
 - d. 資源の一覧表を作るためのデータを明らかにする。
 - e. データを集める。
4. ニーズ解析ステージ
- a. ニーズに重要度をつける
 - b. 特定のニーズが適用になる下位集団を決める。
 - c. ニーズに対応するため実行可能な解決策を見出す。
 - d. 利用可能な解決に照らしてニーズを再評価する。
 - e. ニーズに見合う利用可能な資源を明らかにする。
 - f. 満たされていないニーズの優先順位や特定の下の位集団に対する最適な解決について利害関係者が一致する。
5. プログラム及び政策開発ステージ
- a. ニーズとそれに関連した解決策を政策に転換する計画をつくる。
 - b. 政策のアクションプランに対して内部の承認を得る。
 - c. ニーズ析の結果と政策アクションプランを支持グループ、一般大衆、その他の組織に伝える。
 - d. 支持グループと関連団体と協力してプログラムや政策案を作成する。
 - e. 提案したプログラムや政策が実施された場合のモニターや評価に関する計画を作成する。
6. 資源配分ステージ
- a. 複数のニーズ指標を選択する基準を開発する。
 - b. 資金獲得方式に関する基本方式を決める。
 - c. 指標や主義に関して利害関係者の間で一致をみる。
 - d. データを集め、初期の資金方式を作る。
 - e. 利害関係者に方式を示し、合意と広範な支持を得るべく調整する。

出典：Petersen and Alexander (2001)

厚生科学研究補助金（特定疾患対策研究事業）
分担研究報告書

疾病負担の観点からみた特定疾患の評価

吉田 勝美 聖マリアンナ医科大学予防医学教室 教授
杉森 裕樹 聖マリアンナ医科大学予防医学教室 講師
須賀 万智 聖マリアンナ医科大学予防医学教室 助手

研究要旨：特定疾患治療研究事業の対象疾患を決定する際、非制度的医療費補助を行う際には公平で確かな判断が求められる。そのためには、疾病の負担を基に全対象疾患の中で治療対象疾患を決定する作業が必要になる。本研究では、研究事業の班長調査とその調査項目に対する重みをもとに、疾病負担を順位化していく作業を進める上で問題となる点を見直した。

A. 研究目的

本研究は、特定疾患という研究補助事業の中でその有効性を担保していくかという目的から一つの評価指数を開発することにある。

特定疾患の研究事業は、「難病」として総括される一群の疾患に対して研究費の補助事業を行うと共に、一部の治療対象疾患に対しては医療費補助を行っている事業である。この事業は非制度的事業であり、その目的から今後の研究事業のあり方については行政的視点から検討されるものであるが、特定疾患としての第三者的視点から検討した評価指標を作成して現状の特定疾患の順位付けをみることで、治療対象疾患が全体疾患の中でどのような位置に占めているかを明らかにすることを目的としている。

本報告書では、今回の調査成績の解釈に際しての課題を明らかにすると共に、疾病負担の概念から特定疾患の評価について検討した。

B. 研究方法

今回の解析は、特定疾患治療研究事業の班長からの回答を第三者の特定疾患(難病)という疾患概念からみた重み付けを行い、それぞれの疾患の評価指標を作成して評価得点による順位付けを試みたものである。

第三者として、全国の医学部衛生学公衆衛生学教室の有給助手以上の医師に依頼をした。調査項目についての詳細は、個別報告に述べられているが、特定疾患に基づく概念から4領域にわたり11項目の調査項目から構成されている。この回答をもとに、4つの領域の特定疾患としての重み付けを行うと共に、それぞれの領域に含まれるサブカテゴリーの質問の重みをAHP (Analytic hierarchical process)の手法により重み付けを行い、評価得点の枠組み(係数)を算出したものである。

次に、班長からの回答を枠組みに当てはめ、それぞれの疾患の評価得点を算出した。

C. 結果ならびに考察

詳細な結果は、別報告書に掲載されている

る如くである。本報告書では、結果解釈における考え方について検討を以下のように加えた。

基本的な解釈として、「特定疾患」とは「何であるか」という点である。この点で治療対象疾患というもう一つの概念との整合性である。特定疾患は福祉財源ではなく、研究調査事業の中で対象患者が研究事業に参加することを援助するために行われている公費（治療費）補助である。研究に参加することを援助するための治療補助と研究を支援することが必ずしも一致するわけではない。特定疾患治療研究事業自体は、研究を支援するものであり、公費（治療費）を補助するという福祉の観点とは異なるものである。公費（治療費）補助については、研究に参加することをより容易にするための支援を目的にしたものであり、治療対象疾患すべてに適用するかどうかの判断がある。従って、この研究事業を支援することと福祉目的の公費（治療費）補助とを同一の基準で判断するかを考えていく必要がある。

データの特性についての議論しておくことが必要である。

一つは、評価得点を求めるための枠組みを決定した際の調査対象者の選択である。枠組みを決定することは意思決定に使用する評価の骨格をなすものであり、客観的な枠組みを形成していくことが望まれる。今回の調査では、全国の衛生学公衆衛生学教室の有給助手以上の医師を対象としている。これは、患者との接点が少ない対象者であるものの、保健福祉サービスを構築するための政策的価値基準を理解している対象者であることから公平な判断で行うことができるかと期待されたからである。仮に、臨床医を対象者とした場合には、患者の負担を直接理解しているものの、研究支援という観点での基準から離れるものである。

この点では、特定疾患治療研究事業が研究を支援する目的であることを考えると、衛生学公衆衛生学研究者を対象としていることは矛盾無いものと考えられる。

二つ目は、調査項目の問題である。特定疾患の判断として、「希少性」、「原因不明」、「治療法」、「生活面への影響」の4項目を以て特定疾患の定義としている。この4つの基準尺度と公費（治療費）負担を考える上での基準の取り方の相違である。「希少性」や「治療法」については、研究支援と公費（治療費）補助の基準と添うものであるが、残りの二つとの公費（医療費）補助との関係が簡単ではない。「原因不明」については、原因が解明したとしても、治療法に繋がるか否かで患者への疾病負担の程度が変わるものではない。例えば、「遺伝子異常」として原因が解明されたとしても、治療介入ができないのであれば患者への負担は軽減することではなく福祉としての医療費負担を免除するものではない。従って、公費（医療費）補助を行う基準と特定疾患の基準は同一のベクトルではないものと考えられる。従って、特定疾患に対する評価指標を決定することと公費（医療費）補助を同一の次元で考えることの限界を認識することである。従って、特定疾患としての評価指標の定量化により、重い疾患であることが示されても、特定疾患としての治療対象疾患とするか否かは別に考える必要がある。

三つ目は、特定疾患治療研究の対象となった時点からの医療における変化である。特定疾患として認定された後に、治療法が確立したり、患者数が変動したものが考えられる。また、治療法が確立しても、治療法の効果と効率（経済的尺度）についても考慮する必要がある。

これらの課題については、特定疾患の定義を元に枠組みとしての重み付けを決定し

て評価指標を算出して定量的に特定疾患を評価していく上で常に考慮すべき課題と限界であると考えられる。

次に、今回の解析に関連した課題について検討した。

一つは、判別関数による治療対象疾患の判別の問題である。統計学的課題として、説明変数に使用した項目で「正規性のある」変数であるかどうかの問題が残される。Fisher の線形判別関数では、説明変数が多変量正規分布を形成している必要がある。また、カテゴリカル変数であることから、数量化理論Ⅱ類を用いることも必要である。また、4領域の各質問をカテゴリ毎に一つの変数として「0,1」変数として扱うことが考えられる。

判別をする上でデータの質の問題を検討する必要がある。今回の解析データの中で、同じ回答内容でありながら、治療対象疾患の有無について異なるデータがどのくらい存在しているかである。このように、治療対象疾患が非治療対象疾患と同じ「希少性」、「原因不明」、「治療法」、「生活面への配慮」から構成されているのであれば、これらの変数から治療対象疾患の適否を判別していくことが困難であることを示唆するものである。

次の問題点は、各項目に対する回答カテゴリの重み付けである。現在の重み付けは、問題となるカテゴリが大きくなるように設定しており、同様に対象人数などについては少ないほど重要と設定している。公費（治療費）補助を行うものが少ないことを重要と考えるかの問題が出てくる。

D. 結論

特定疾患の疾病負担を評価する際に必要となる視点として、疾患と評価の定義を明確にすること、調査に関しては客体の妥当性、調査項目の妥当性、時間的な関係を考

慮する必要性を示した。また解析については、判別関数やカテゴリの重みなどについて非線形の問題を考える必要性を示した。

E. 文献

Brown LD. Management by objection? Public policies to protect choice in health plans. *Med Care Res Rev* 1999;56 Suppl 1:145-65

厚生科学研究補助金（特定疾患対策研究事業）

分担研究報告

特定疾患（難病）対策の事後評価の可能性

田村 誠 国際医療福祉大学医療福祉学部

研究要約：特定疾患（難病）対策の「事後評価」の可能性を検討した。事後評価の分析視角としては、住民・患者の健康状態向上に寄与したか（効果があったか）、効率的な方法であったか、医療サービスの質と量を向上させたか、などが考えられた。特定疾患（難病）対策の「事後評価」の可能性について具体的に考えられたのは以下のようなものであった。

- 1) 特定疾患（難病）対策が、当該疾患の患者の余命、QOLの向上に貢献したか否か。
- 2) 患者の余命、QOLの向上に貢献したのであれば、そのために同対策は効率的な方法であったか。
- 3) 特定疾患（難病）の発症が社会階層や地域的な不平等が生じていた場合に、その不平等が特定疾患（難病）対策により縮小したか。
- 4) 特定疾患（難病）対策が、特定疾患（難病）の専門医や専門医療機関の数を増やしたか、治療方法の改善や有効な治療方法の普及に貢献したか。
- 5) 特定疾患（難病）の専門医や専門医療機関に地域格差がある可能性があったとしたら、そうした格差を特定疾患（難病）対策が縮小させたか。
- 6) 特定疾患（難病）対策が、各疾患の患者会などの活動状況に好影響を与えたか。

A. はじめに

「特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究」班では、どのような疾病・疾患が特定疾患対策（難病）対象疾患としてふさわしいかについて取り組んできた。これは、今後の政策決定に寄与しようとするものであり、「事前評価」にあたる。

政策評価を行う場合、「事前評価」の取り組みもむろん重要であるが、「事後評価」が用いられることも珍しくない。

「事前評価」には不確定要素が多く、技術的に困難な面がある。一方、「事後評価」は政策執行後に行われるため、タイムリーに行わない限り、政策改善・決定に寄与で

ない場合もある [田村 2000]。

このように「事前評価」と「事後評価」には一長一短あるが、本報告では特定疾患（難病）対策の「事後評価」の可能性について検討してみたい。

はじめに、医療政策の「事後評価」についての一般的な考え方、枠組みを整理した上で、特定疾患（難病）対策を事後評価するとしたら、どのような可能性があるかを論じる。

B. 医療政策評価の枠組み

まずは、政策評価の基本的な考え方を整理し、その後に枠組みを論じる。

1) 政策評価の基本的考え方ー政策評価の2つの目的とそれにリンクした評価法

政策評価の目的として2つを想定する。「アカウンタビリティの向上」と「政策改善」である〔Chelinsky 1997; 山谷 1997, p70-76〕。そして、各々の目的に沿って、異なる評価法がある。

アカウンタビリティの向上と総括的評価

アカウンタビリティとは、行政が政策の企画・立案や実施に際して、①行政の関与の必要性、②住民ニーズへの適応、③政策の効果・効率、などについて説明責任を負っていることである〔政策評価研究会 1999〕。

アカウンタビリティには、大きく3種類ある〔山谷 1997, p70-71〕。公的支出の合规性を問題にする「財政上のアカウンタビリティ」、行政活動が行われるときに従うべき手続きや手順への適合性を問う「マニュアル・アカウンタビリティ」、そして、政府活動は期待した通りの結果を生み出したのかを問う「プログラム・アカウンタビリティ」である。

前者の2つは行政監察・監査の領域である。したがって、本稿で政策評価の目的として扱うアカウンタビリティは、3番目の「プログラム・アカウンタビリティ」である。

「プログラム・アカウンタビリティ」のためには、「総括的評価 (summative evaluation)」と呼ばれる方法が用いられる〔Worthen et al. 1997, p14〕。「総括的評価」とは、比較的大規模データを用いて、信頼性・妥当性に配慮した方法により、予期したアウトカムを実現できたか否かを明らかにしようとするものである。

「総括的評価」に相対するのが「形成的評価」である。これについては、次に述べ

る。

政策改善と形成的評価

もう一つの政策評価の目的である「政策改善」とは、「計画→実施→評価→計画…」というマネジメント・サイクルに評価を位置づけようというものである。いわば政策の質の向上を主眼にした評価である。

こうした目的に用いられるのは、「形成的評価 (formative evaluation)」と呼ばれ〔Worthen et al. 1997, p14〕、なぜ計画時に予定したようなアウトプットが生産されないのか、期待した成果が見られないのか、政策が影響を及ぼすプロセスを明らかにし、その原因や障害になっている問題を探る。大規模データの量的解析よりも、むしろ小規模データに基づく質的分析を行い、いかに政策を改善可能なのかを検討する。

従来はアカウンタビリティを目的とした「総括的評価」が政策評価の中心とみなされていた。しかし近年は、プログラム改善をも果たしうる「形成的評価」に力点が移されつつある。その背景は以下の通りである。

①アカウンタビリティ追求型の政策評価は「あら捜し」になりやすく、評価される側の協力を得られ難くなる。評価者と被評価者の間に対立が生じ、その結果、本来の評価の目的であるはずの「いかにして良質のサービスを住民に提供するか」が忘れられてしまう〔山谷 1997, p72〕。

②政策は議会という集合的意思決定の場で決定されるため、政策目的の複合性、目的相互間の矛盾性、目的の曖昧性・抽象性を有する場合が多い〔山本 1997〕。したがって、期待通りの結果が生じたかどうかを明らかにする「総括的評価」を行うことは容易でないし、またその結果は必ずしも有用ではない。

ところで、「形成的評価」であれば従来から行政内部で行ってきたことであり、とくに「政策評価」などと大仰なことを言う必要はない、という考えもあるかもしれない。しかし、次の2つの点で従来のものとは異なると考えられる。

一点は、評価結果を公開し、それについて広く意見を聴取することが政策評価では求められることである。行政内部で過去の政策評価を従来行っていたとしても、それが公開されたケースは稀であろう。

もう一点は、評価を行うにあたって、「系統的な情報収集」を行う点である。自分の都合のいいデータだけを採集することは許されない。

2) 評価の枠組み

評価の枠組みとしては、政策をどのような指標で評価を行うか（「評価指標」と呼ぶ）と、その指標をどのような角度から分析するか（「分析視角」と呼ぶ）の2つに分けて論じたい。

① 評価指標

評価指標としては大きく3つのものを用いる。「住民・患者の健康状態」、「提供される医療サービス（保障・供給）の質と量（以下、『医療サービスの質と量』）」、「住民・患者のエンパワーメント」である。

住民・患者の健康状態

医療の目的は住民・患者の健康状態の回復・向上であり、医療政策の評価指標の一つとして、「住民・患者の健康状態」を含

めることにさして異論はないであろう。従来から死亡率や健康関連 QOL（生活の質）などにより、医療政策や技術を評価してきた事例は多い。

「住民・患者の健康状態」を評価指標とする場合は、基本的に上で述べた区分で言うと、政策が予期したアウトカムを実現できたか否かを明らかにしようとする「総括的評価」となる¹⁾。

しかし、ここで留意すべき点が2つある。

一つは、「住民・患者の健康状態」は医療政策以外のものからも多大な影響を受けていることである。各国の平均余命は、医療費などよりも GNP などの生活水準指標とよく相関するのは古くから知られていることである [Car-Hill 1994]。

したがって、「住民・患者の健康状態」を評価指標とした場合には、医療政策との因果関係を明確にすることは容易でない。

もう一つは、健康状態の「定義」である。「健康」とは何か、ということについては実に多くの議論がある [生田 1996; 本宮 1995]。もう少し現実的にいかに健康状態を測定するか、という問題でも、単に長生きが支持されるよりも、むしろ生存中の生活の質 (QOL) が求められるようになっており、生存期間と生活の質をどう組み合わせるかという難問がある [田村他 1996]。

医療サービスの質と量

二つ目の評価指標は「医療サービスの質と量」である。

医療政策はほとんどの場合、住民・患者

*1 後で述べる通り、なぜ健康状態改善に結びつかなかったかを評価することもあり、健康状態を評価指標としたものは、全て「総括的評価」というわけではない。これは、次項の「医療サービスの質と量」の評価でも同様であり、全て「形成的評価」というわけではない。

の健康状態に直接影響を及ぼすのではなく、提供される「医療サービスの質や量」を変化させ、その結果、「住民・患者の健康状態」に影響を及ぼす、という順序をとる。

ここではその医療政策の影響過程のうち、「医療サービスの質や量」が期待通り変化したか否か、そして、その変化に伴い、住民・患者の医療サービス利用の仕方によどのような影響があったかを明らかにしようとするものであり、さきに述べた方法で言うと「形成的評価」にあたる。

「医療サービスの質と量」の一例を挙げると、次のようなものである。例えば、侵襲の少ない治療法や成功率の高い手術法の普及が「質の向上」であり、医療機関数や専門医数の増加が「量の拡大」である。

「住民・患者の健康状態」を評価指標とするときに比べると、政策との因果関係は明解である。しかし問題は、医療サービスの質の向上や量の拡大が、「住民・患者の健康状態」にプラスのインパクトを与えている保証はない点である。

例えば、すでに厳格な方法で効果が証明されている医療技術が普及した場合でも、その結果、住民・患者の健康状態が向上しない可能性がある。理想的条件下で効果を証明される場合（いわゆる efficacy）と、現実の社会で行われる場合（いわゆる effectiveness）とは、種々の条件が異なるからである [Aday et al. 1998, p54]。具体的には、医療スタッフの知識や経験も異なるであろうし、医療機関の設備などのハード面でも異なるかもしれない。

このように政策が影響を及ぼすプロセスに問題があるものは、まさに「形成的評価」が有用である。問題の原因を明らかにし、政策をどのように変えたならば「住民・患者の健康状態」の向上につながるのかを明らかにし得る可能性がある。

住民・患者のエンパワーメント

三つ目の評価指標は「住民・患者のエンパワーメント」である。

エンパワーメントとは、市民・患者に対する権力賦与（権力資源の再配分）のことである [武川 1996: p14]。機会の平等が必ずしも結果の平等につながらないことが明らかになってきたため、単に社会サービスを提供するだけでなく、力（権力）の基盤へのアクセス機会を保障することで、対象者が自ら力を獲得する道を開く、という方向を目指すものである [Friedmann 1993]。

そして、エンパワーメントは保健医療福祉の分野でも昨今注目されている [清水・山崎 1997; 野嶋 1996; 小田 1999; Segal 1998; Beeker et al. 1998]。疾病構造の転換などにより住民・患者主体の時代になっていること、住民・患者の権利意識の高まりなどが背景にある。

具体的には、住民や患者が意思決定に参画できているか（治療方針のようなミクロなものから、医療政策決定に至るまで）、意思決定に必要な情報にアクセスできるか、医療サービスを受けるにあたってコントロール感を有しているか、などがエンパワーメントの高低、有無となる。

3つの評価指標の関係

ここまでに述べた3つの評価指標の関係は以下の通りである。

「住民・患者の健康状態」の評価とは、結果の評価である。

それに対して、「医療サービスの質と量」と「住民・患者のエンパワーメント」の評価はプロセスの評価（すなわち形成的評価）である。そして、「医療サービスの質と量」が「医療供給側」の変化の評価であるのに対し、「住民・患者のエンパワーメント」

は「医療需要側（住民・患者）」の変化の評価である。

実際に政策が影響を及ぼすプロセスは、まず医療供給側と医療需要側に影響を及ぼし、その両者が相互に影響を及ぼしつつ、最終的に結果が生じる（健康状態の向上）と考えられることから、この3者を評価することにした。

②分析視角

これらの評価指標について、それぞれ3つの角度から分析を行う。3つの角度とは「効果（effectiveness）」と「効率（efficiency）」と「公平（equity）」である。以下は、Aday et al. (1998, p7)、Wagstaff (1991)の定義を参照した。

効果

「効果」とは、評価対象とする政策（以下、「評価対象政策」）により、望ましい結果が生じているかどうかのことである¹。ここでは、評価対象政策の実施により、健康状態の向上があったか、医療サービスの質と量の向上があったか、などである。

効率

「効率」とは、その望ましい結果を生じさせるにあたって、どのくらいの資源を要しているか、あるいは、投入された単位あたりの資源でどのくらいの効果が生じているかを、他の政策と比較し優劣を競うものである。

公平

「公平」とは、評価対象政策により、健康状態や医療サービスの質と量のバラツキ

（地域格差や社会階層格差など）が縮小したかどうかを測ろうとするものである。

3つの分析視角を用いる理由

「効果」、「効率」、「公平」の3つの角度から分析を行う理由は以下の通りである。

①医療の効果への疑問の高まりや財政逼迫などにより、医療政策の「効果」、「効率」は重要な政策決定の材料になる。

②「公平」は、わが国の医療政策にとって重要なゴールの一つと考えられる。

③この3つの角度からの分析は広く用いられる〔宮川 1995, p237; Aday et al. 1998〕。

結局、3つの評価指標に対して、3つの分析視角があるため、合計9つの評価視角が出来上がるはずである（各評価指標を分析視角ごとに評価するものを「評価視角」と呼ぶ）。しかし、エンパワーメントについては、評価指標として未成熟であり、本稿ではエンパワーメントについては、3つの分析視角を設けず、単独の評価視角として取り扱う。そのため、表1に示した通り、合計7つの評価視角ができる。

3) 7つの評価視角

以下、全体像を示すために、それぞれの評価視角について説明していく。

①住民・患者の健康状態（効果）

評価対象政策が、対象となる住民・患者の健康状態向上へ影響を及ぼしたか否かという評価である。ミクロのレベルであれば、RCT（randomized control study）による

*1 ここまでに全て述べた通り、形成的評価であるか否かについては、例外がある。

*2 望ましい結果には、意図されたものもあれば、意図されていないものも含める。

個々の医療技術の評価である。マクロのレベルでは、例えば、公的医療保険の自己負担率のアップが住民・患者の健康状態にどのような影響を及ぼしたかの評価である。

評価方法は実験デザインや準実験デザインなどを用いた量的評価に限らない。薬剤の効果のように、効果を及ぼすメカニズムが基本的にブラックボックスであるものは量的評価によらざるを得ない。

しかし、評価対象政策が人間の行動や心理に影響を及ぼし、その結果、健康状態に影響を及ぼすような場合は、そのメカニズムを明らかにし、効果が無い場合、あるいは、小さい場合には、どのようにすれば効果をあげることができるか、というような評価を行う（開発的評価）[Φ vretveitm 1998, p121-136]。その場合には、量的測定ではなく、いわゆる質的評価が有力な方法となる。

②住民・患者の健康状態（効率）

評価対象政策への一定の投入資源に対して、どの位の健康状態向上が実現できたかを明らかにする評価である。医療技術の経済的評価のときに指摘されるように [Drummond et al. 1997, p31]、1) で明らかにしようとしている「効果」がない政策の「効率」を測定する意味はない。

評価の方法としては、費用便益分析や費用効果分析による。通常、他の政策との比較により、どの政策がより効率的で、より多くの健康状態向上を生み出せるかを明らかにしようとする。

③住民・患者の健康状態（公平性）

評価対象政策が、健康状態の不平等を縮小させたかを明らかにしようとする評価である。健康状態が社会階層ごとに異なることが広く知られており、その不公平性への影響を測定しようとするものである。

個々の政策との因果関係を明らかにするのは容易でないので、通常、ある程度の期間を区切り、健康状態の公平性が向上したのか、悪化したのか、によりその期間中の政策全体の評価をする [Marmot 1986]。

わが国では欧米諸国に比べて、階層差が明確でなく、健康状態の不平等についての研究も非常に少ない [松本・長谷川 1999]。しかしながら、健康状態の階層差を示唆する、健康状態の地域差データは存在しており [朝倉・山崎 1982; 高野 1998]、健康状態の公平性の評価は重要と考えられる。

④医療サービスの質と量（効果）

評価対象政策が、医療サービスの質と量を向上させたか、を明らかにしようとする評価である。医療サービスの質と量には実にさまざまな側面があるため、評価対象政策ごとにどのような側面で医療サービスの質と量を向上させたかを評価するかは大きく異なってくる。

例えば、救急医療政策であれば、救急救命センターの設置数や救急救命士の配置状況などを評価することになるかもしれない。あるいは、へき地医療対策であれば、へき地医療情報システムの整備状況、へき地勤務医数などを評価することになるであろう。

また、そのような量的評価だけでなく、質的評価により、なぜ評価対象政策は医療サービスの質と量の向上をもたらせないのか、などの分析を行う。

⑤医療サービスの質と量（効率）

評価対象政策への一定の投入資源に対して、どの位医療サービスの質と量を向上させたか、を明らかにする評価である。

2) の「健康状態への影響（効率）」と同様、費用便益分析や費用効果分析による。

また、規制については社会的便益と社会的費用を比較考量する「規制インパクト分析 (regulatory impact analysis)」を用いることができる [OECD 1997]。

⑥医療サービスの質と量 (公平性)

これには大きく2つの側面がある。一つは、評価対象政策は医療サービスの量や質のバラツキを縮小できたか、という面である。具体的には、地域ごとの医療サービスの質や量の格差や、医療機関ごとの医療サービスの質のバラツキの是正である。

もう一つは、住民や患者の医療サービス利用や医療費負担 (保険料および診療時自己負担) の不平等を縮小できたか、という面である。具体的には、地域ごとや社会階層ごとに医療サービス利用や、医療費負担の格差があるか、あるとすればその是正である。

⑦住民・患者のエンパワーメント

エンパワーメントの概念は上で述べた通りである。評価対象政策がエンパワーメントにいかに関与を及ぼすかを明らかにする評価である。

C. 特定疾患 (難病) 対策の「事後評価」の可能性

ここまで述べてきた政策評価の枠組みに沿って、特定疾患 (難病) 対策の「事後評価」の可能性について論じる。具体的には、7つの分析視角ごとに検討を加えていく。

①住民・患者の健康状態 (効果)

まずは、住民・患者の健康状態である。特定疾患 (難病) 対策が、当該疾患の患者の余命、QOL の向上に貢献したか否か、という評価である。特定疾患 (難病) 対策の最も基本的なゴールを基準とした評価で

ある。

評価にあたっては、次の点の検討がまずは必要となる。

それは、政策との因果関係である。余命や QOL への影響は、5年生存率や QOL スケールの年次推移と特定疾患 (難病) 対策導入時期との関係を見ることになるが、そうした分析により因果関係を同定するのは容易ではない。生活環境の改善による健康状態の向上かもしれないし、特定疾患 (難病) 対策とは関係のないところ (例えば、海外など) での治療方法の開発によるかもしれない。

政策との因果関係を明らかにしようとする場合、個々の特定疾患 (難病) ごとに分析するのではなく、特定疾患 (難病) 対策とした疾患全体を分析し、それと特定疾患 (難病) に指定されなかった疾患の患者の健康状態 (の向上) とを比較することが考えられる。

②住民・患者の健康状態 (効率)

上の1)により、住民・患者の健康状態の向上がある程度把握できたとして、それと投入資源との関係である。

投入資源は、特定疾患 (難病) 対策に投じた費用=国の予算であり、非常に明確である (この場合、特定疾患 (難病) 対策という観点からみた経済的評価になる)。問題は健康状態の向上をどのような指標で明らかにしうるかであるが、余命の伸びと QOL の改善具合が明らかになっているのであれば、QALY (quality adjusted life years) による評価がもっとも実現可能性が高いと考えられる。そして、1 QALY 改善にどの程度の費用を要したかを算出すれば、疾患ごとの効率性を比較できるし、また一般の医療技術などとの効率性との比較も可能になる。

③住民・患者の健康状態（公平性）

多くの疾患は、社会階層や地域等によって発生頻度が異なる。特定疾患（難病）にもそのような不平等が生じていた場合に、その不平等が特定疾患（難病）対策により縮小したかどうかを評価することになる。

比較的评价が容易なのは地域ごとの分析である。地域別の各疾患患者数の年次推移をみることなどにより、不平等の測定が可能である。ただし、特定疾患（難病）では患者の発見率が地域によって異なる可能性があり、その点を考慮する必要がある。

④医療サービスの質と量（効果）

特定疾患（難病）対策が、特定疾患（難病）の専門医や専門医療機関の数を増やしたか、などが医療サービスの「量」への効果であり、治療方法が改善されたとか、有効な治療方法が普及した、などが「質」への効果となる。

これも時系列に分析をするか、あるいは、特定疾患（難病）に指定された疾患と、それと同様な疾患で特定疾患（難病）に指定されなかった疾患の医療サービスの質と量を比較することが考えられる。

⑤医療サービスの質と量（効率）

上の4)で特定疾患（難病）対策が医療サービスの質と量に効果があるとみとめられた場合に、その効果と投入資源との関係である。

特定疾患（難病）に指定されなかった疾患では同様な資源投入（国からの研究費補助等）がなかった可能性が高いので、効率測定は特定疾患（難病）に指定された疾患同士の評価となるであろう。例えば、疾患ごとに投入された資源と専門医数の上昇程度といった具合である。

⑥医療サービスの質と量（公平性）

特定疾患（難病）の専門医や専門医療機関は、一般の医療機関以上に地域格差がある可能性がある。また、社会階層ごとに医療サービス利用の格差がみられる可能性も高い。こうした不平等を特定疾患（難病）対策が縮小させたか否かである。

これも特定疾患（難病）に指定されなかった疾患の専門医や専門医療機関の地域格差と、特定疾患（難病）に指定された疾患の専門医や専門医療機関の地域格差を比較するなどにより評価を行うことが考えられる。

⑦住民・患者のエンパワーメント

特定疾患（難病）対策との関連では、各疾患の患者会などの活動状況がエンパワーメントを表すものと考えられる。すなわち、患者会が設立されている、あるいは、活発に活動していることなどを持って、エンパワーされているとみなす。

これも特定疾患（難病）に指定されなかった疾患の患者会と、特定疾患（難病）に指定された疾患の患者会の活動状況を比較するなどにより評価を行うことが考えられる。

なお、ここまでの検討では、量的評価を中心に論じてきたが、分析視角ごとに質的評価を行うことも考えられる。

以上、政策評価の考え方を整理した上で、特定疾患（難病）対策の事後評価の可能性について検討してきたが、事後評価の視点にはさまざまな可能性があり、将来の特定疾患（難病）対策に向けて有益な評価もなしうると考えられた。

D. 文献

Aday, L., et al. (1998) *Evaluating the Healthcare System: Effectiveness, Efficiency, and Equity*, Health Administration Press.

朝倉隆司、山崎喜比古。(1982) 川崎市における中年期死亡率の地域差. 日本公衆衛生雑誌 29(10): 515-521.

Becker, C., Guenther-Grey, C., Raj, A. Community Empowerment Paradigm Drift and the Primary Prevention of HIV/AIDS. *Soc Sci Med* 46(7): 831-842.

Carr-Hill, R. (1994) Efficiency and Equity Implications of The Health Care Reforms. *Soc Sci Med* 39(9): 1189-1201.

Chelinsky, E. (1997) The Coming Transformation in Evaluation. in Chelinsky, E. & Shadish, W. *Evaluation for the 21st Century*, Sage publications. p1-26.

Drummond, M.F., et al. (1997) *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*, 2nd ed. Oxford Medical Publications.

Friedmann, J. (1992) *Empowerment: The Politics of Alternative Development*.

齊藤千宏・雨森孝悦監訳. 市民・政府・NGO「力の剥奪」からエンパワーメントへ. 新評論.

生田清美子。(1996) 健康観に関する一考察. 日本公衆衛生雑誌 43(12): 1005-1008.

Marmot, M., McDowall, M. (1986) Mortality decline and widening social inequalities. *Lancet* 274-277.

松本邦愛、長谷川敏彦。(1999) 所得階級

でみた日本の健康の公平性の分析. 病院管理 36-supplement, 175.

宮川公男。(1995) 政策科学入門. 東洋経済新報社.

本宮輝薫。(1995) 健康度のホリスティックな把握と評価. 園田恭一、川田智恵子編. 健康観の転換—新しい健康理論の展開. 東京大学出版会.

野嶋佐由美。(1996) エンパワーメントに関する研究の動向と課題. 看護研究 29(6): 3-14.

小田兼三。(1999) エンパワーメントとは何か. 小田兼三他編. エンパワーメント—実践の理論と技法. 中央法規.

OECD. (1997) *Regulatory Impact Analysis: Best Practices in OECD Countries*. Øvretveit, J. (1998) *Evaluating Health Interventions*. Open University Press.

Segal, L. (1998) The importance of patient empowerment in health system reform. *Health Policy*, 44: 313-44.

政策評価研究会。(1999) 政策評価の現状と課題. 通商産業省大臣官房政策評価官房課.

清水準一、山崎喜比古。(1997) アメリカ地域保健分野のエンパワーメント理論と実践に込められた意味と期待. 日本健康教育学会誌4(1): 11-18.

高野健人。(1998) 東京下町地域における不健康集積. 民族衛生 64(1): 5-25.

- 武川正吾. (1996) 社会政策における参加. 社会保障研究所編. 社会福祉における市民参加. 東京大学出版会.
- 田村誠他. (1996) QALYs の効用値算出法に関する実証研究. 医療経済研究 3: 87-103.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価・1 - 政策評価の動向と概念整理. 病院 59(2): 166-171.
- Wagstaff, A. et. Al. (1991) Equity in the Finance and Delivery of Health Care. Alistair Mcguire, et.al edited. *Providing Health Care. the Economics of Alternative Systems of Finance and Delivery.* Oxford University Press.
- Worthen, B., Sanders, R., Fitzpatrick, J. (1997) *Program Evaluation: Alternative Approaches and Practical Guidelines,* Longman Publishers.
- 山本清. (1997) 政府サービスの「質の評価」こそ不可欠. 論争 東洋経済 p200-209.
- 山谷清志. (1997) 政策評価の理論とその展開. 晃洋書房.
- E. 研究発表
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (I) - 政策評価の動向と概念整理. 病院 59(2), 166-171.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (II) - 評価枠組みについて. 病院 59(3), 257-262.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (III) - 「効果」の評価方法と考え方 (1). 病院 59(4), 342-345, 2000
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (IV) - 「効果」の評価方法と考え方 (2). 病院 59(5), 443-447.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (V) - 「効率」の評価方法と考え方. 病院 59(6), 528-532.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (VI) - 「公平」の評価方法と考え方. 病院 59(7), 635-639.
- 田村誠. (2000) 医療の政策評価 (VII) - 「エンパワーメント」の評価方法と考え方. 病院 59(8), 730-734.
- 田村誠. (2000) 療の政策評価 (VIII) - 連載のまとめと課題. 病院 59(9), 814-817.

厚生科学研究補助金（特定疾患対策研究事業）

分担研究報告

特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究の枠組みに関する検討

武藤 孝司 順天堂大学医学部公衆衛生学教室

研究要旨：本研究は特定疾患対策対象疾患として取り上げるべき疾患として、どのような疾患が適切であるかを再評価する際の枠組みを検討することを目的として行なわれた。まず用語の概念規定を行い、特定疾患とは厚生省が「難病対策要綱」によって定めた難病であることを確認した。次いで、再評価が必要となった主たる理由として、医学・医療の進歩により既定の疾患の中には難病の定義を満たさなくなったものがあるためであることを挙げた。難病対策が厚生省の事業として実施されていることから、再評価は政策科学、とりわけ政策評価の範疇に含まれる事前評価の課題として取り上げるべきであることを論じた。事前評価の方法としては、ニーズ調査、セオリー評価、コスト・パフォーマンスの事前検討という3種類があり、各々の特徴について解説した。

A. 用語の整理

ここでいう特定疾患とは、いわゆる難病のことを指している。難病の捉え方は各時代の医療水準や社会事情によって変化するが、特定疾患としての難病の定義は昭和47年の「難病対策要綱」によって定められた。この難病対策要綱は難病対策推進のために昭和46年厚生省内に組織された難病プロジェクトチームが難病対策の考え方、対策項目などについて検討した結果をまとめたものであり、現在までの難病対策の基本となっているものである。本研究では、特定疾患の概念および特定疾患対策の基本的考え方はこの難病対策要綱に基づくものとする。

難病対策要綱によると、難病対策として取り上げるべき難病には、(a)原因不明で治療方法が未確立であり、後遺症を残すおそれが少なくない疾患と、(b)経過が慢性にわたり単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重くまた精神的にも負担の大きい疾病の2種類がある。難病対策の5本柱と

しては、(1)調査研究の推進、(2)医療施設等の整備、(3)医療費の自己負担の軽減、(4)地域における保健医療福祉の充実・連携、(5)QOLの向上を目指した福祉施策の推進が挙げられている。

特定疾患対策対象疾患とは、上記(1)の調査研究の推進対策として行なわれる厚生科学研究費補助金の特定疾患対策研究事業（従来の「特定疾患調査研究事業」）の対象疾患を指し、現在118疾患がこれに指定されている。このうち、44疾患は特定疾患治療研究事業として、医療費の自己負担分を公費で負担している。

B. 「特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究」の必要性

対象疾患の中には、医学・医療の進歩により原因が解明されて治療方法が進んだ疾患も現れて、一般の疾患との違いが明確でなくなり、難病の定義(a)に該当しなくなっているものが出てきている。逆に、これまでの118疾患以外にも難病とすべきであるとの意見がある。特定疾患対策対象

疾患の評価に関する研究の必要性は、このように現在の対象疾患が時と共に難病として必要かつ十分とは言えなくなっているという状況に由来する点が大きいのといえよう。

さらに、特定疾患治療研究事業の対象となる疾患は特定疾患対策研究事業の対象となる疾患から選択されており、その患者数が年々増えているという点も、この研究が必要な理由となっている。特定疾患治療研究事業の対象となる疾患に関しては、医療費の自己負担分が公費で負担されているが、この事業に対する予算の伸びは期待できない財政状況になっている。このような現状の中で、今後限られた研究事業費から効率的な難病研究を進めて行くためには、難病として取り上げるべき疾患の見なおしが必要となっている。

C. 政策科学からの枠組み

ここで検討している特定疾患対策とは、ここまでの検討で明らかなように、厚生科学研究費補助金の特定疾患対策研究事業として行なわれる国の具体的な一つの事業（プロジェクト）である。通常、事業にはその上位概念として、施策（プログラム）、さらにその上には政策（ポリシー）が存在する（山谷，1997）。従って、個々の事業について、その本質的な理解をはかるためには、単に個々の事業内容だけでなく、その事業の背景にある施策や政策についても理解する必要がある。これはまさに政策科学的立場にたって、その枠組みの中で理解すべきであるということになる。何となれば、政策科学とは「公共的および市民的秩序の意思決定プロセスについての（of）およびそのプロセスにおける（in）知識に関わるもの」（宮川，1994）であるからである。

政策科学におけるアプローチの特性とし

て、コンテキスト志向、問題解決志向、多様な方法の3つが挙げられている。コンテキスト志向とは、政策科学は相互依存関係にある複雑な社会プロセスの中での問題を扱うので、そのような相互依存関係をコンテキストとして意識したアプローチをすべきであるというものである。問題解決志向の具体的な方法としては、目標の明確化、歴史的傾向の叙述、諸要因間の相互決定関係の分析、将来の発展予測、代替案の創案、評価および選択が挙げられている。多様な方法は、政策プロセスが複雑であり多様であるということから、用いる方法も問題の複雑さ・多様さに応じた多様な方法を用いるべきであるという考え方である。

D. 政策評価としての事前評価からの枠組み

政策科学が取り組むべき主要な問題群は政策分析、メガポリシー、メタポリシー、実現のための戦略の4領域に分けられる（宮川，1994）。政策分析は望ましい政策代替案を決定するためのヒューリスティックな方法を提供するために行なわれるが、政策分析の重要な一分野に政策評価がある。通常、政策評価という場合には、政策によってもたらされた結果をその政策が達成しようとしている目的に照らして評価することをさすことが多い。これは政策結果の評価の段階におけるいわば事後評価である。それに対し、望ましい政策を選択するために、いくつかの政策代替案を比較する事前評価も政策評価の範疇に含まれる。本研究は難病対策事業に含むべき対象疾患とはどのような疾患であるかを検討することを目的としているのであるから、政策科学の枠組みで理解すれば、それはまさに政策評価の一つである事前評価を行うことになる。事前評価にはニーズの把握、介入理論（セオリー）の妥当性の検討、コスト・パ

パフォーマンスの事前検討の3種類がある(龍, 佐々木, 2000)。

行政の行う事業あるいは施策は, その消費者である国民のニーズに合ったものが望ましく, そのニーズを把握するための方法論であるニーズアセスメントが必要となる。国民を行政の顧客として考えると, 経営管理手法の一つである顧客満足(customer satisfaction)という概念が適用される。こうした考え方は, サービス提供者のパフォーマンス, サービスの質の向上, 苦情応答能力などの関係する consumer accountability の概念につながるものである。

セオリー評価は, 財政的, 人的, 時間的な各種資源の投入, 組織的なサービスの生産活動, およびサービスの生産結果と受益者によるサービスの利用結果という一連の流れを因果関係から明らかにする評価である。このセオリー評価は政策立案段階のほか, 存在理由が不明確になった既存政策の見直しにも用いられる。

事前評価としてコスト・パフォーマンス評価を行えば, 複数の政策案の中でより効率的な政策を選ぶための資料を提供することができる。コスト・パフォーマンス評価には費用効果分析, 費用効用分析, 費用便益分析の3種類があり, 各々特徴があるので, 評価の目的に応じて使い分けをすることになる。

E. 文献

1. 宮川公男. 政策科学の基礎. 東洋経済新報社, 1994.
2. 山谷清志. 政策評価の理論とその展開. 晃洋書房, 1997.
3. 龍慶昭, 佐々木亮. 「政策評価」の理論と技法. 多賀出版, 2000.

F. 研究発表

Muto T, Takata Y, Aizawa Y, Mizoue T. Analysis of Japanese occupational health services for small-scale enterprises, in comparison with the recommendations of the Joint WHO/ILO Task Group. *Int Arch Occup Environ Health* 2000;73:352-360.

武藤孝司. 根拠に基づく公衆衛生の展開: ヘルスプロモーションからのアプローチ. *公衆衛生* 2001;65:33-37.

武藤孝司. ヘルスプロモーションの視点からみた健康増進施策の評価法. 岡田守彦, 松田光生, 久野譜也. 高齢者の生活機能増進法. ナップ, 2000:219-230.

厚生科学研究補助金（特定疾患対策研究事業）
分担研究報告書

特定疾患対策対象疾患の客観的評価指標の開発について

吉田 勝美 聖マリアンナ医科大学予防医学教室
杉森 裕樹 聖マリアンナ医科大学予防医学教室
須賀 万智 聖マリアンナ医科大学予防医学教室

研究要旨：特定疾患治療研究事業は、難治性疾患の研究事業を支援する目的で、研究に参加した患者に支給される事業である。治療研究事業は研究事業費の一部が患者に給付されるものであり、公平な支給運用が望まれる。しかしながら、現在まで治療研究事業の選択基準として客観的な評価が行われるとは言えない。本研究は、評価指標を開発することを目的として、調査解析の進め方について検討を行った。

A. 目的

特定疾患治療研究事業は、特定疾患研究調査事業対象疾患118種類の中から、44疾患が選択され、治療研究に患者参加を要請することを目的としている。しかしながら、研究調査事業の118疾患から客観的な基準をもとに、治療研究事業の44疾患が選択されているとはいえない。客観的な指標を作成することは、今後支給疾患を見直しする際、新規の疾患を治療研究対象疾患として認定するか否かを判断する根拠となる。

本研究は、調査結果を客観的な指標を作成する観点から、解析を行うための必要事項をまとめた。

B. 方法

本調査は、2種類から構成されている。

第一の調査は、評価を行う構造や係数を決定することを目的としたものであり、全国の医科大学、大学医学部の衛生学公衆衛生学の助手以上を対象に実施された。対象人数は、385名であり、記載不備を除いて、解析に供したのは278例である。

第二の調査は、第一の調査により得られ

た評価構造をもとに、治療研究事業対象疾患の班長により疾患ごとに評価項目のデータを提供されたものである。

現在の解析については、他の研究で詳述されるので省略するが、まず「稀少性」、「解明度」、「治療法」、「生活面での影響」の4項目について、それぞれの項目を構成する要素について、重要度の二対比較により、重要度の高い項目を2つ選択し、一次支持の要素を100点、二次支持を50点として、合算した後に、4項目の重要度の平均値をもとに、係数を算出する方法を採用している。

C. 結果

「稀少性」に関しては、①患者数と②専門医数が選ばれ、係数は0.144であった。次に、「原因」に関しては、①発症機序と②診断基準が選ばれ、係数は0.271であった。

「治療法」に関しては、①治療法と②5年生存率が選ばれ、係数は0.285であった。

「生活面」に関しては、①介助と②社会生活が選ばれ、係数は0.298であった。

各班長からの調査結果を上記の評価構造に代入して、「稀少性」、「原因」、「治療法」、

「生活面」の得点を算出した後に、合計得点を算出した。

D. 結果並びに考察

現時点での資料を基に、客観的な指標を作成するために必要とされる解析上の問題点と解決策をまとめた。

解析上の問題点と解決策

1. 評価構造の妥当性

治療研究対象疾患とそれ以外の疾患に分けて、現時点での要素と得点を用いた場合の得点の比較を行う。基本統計として、治療研究の対象の有無に対して、その要素や係数の意義を理解することができる。

2. 評価項目の妥当性

現在、4つの項目について、上位2つの要素のみを使用している。「稀少性」と「解明度」では3つの要素、「治療法」や「生活面」では6つの要素から構成されている。上位2つに絞ることは、収集されたデータの一部のみを使用していることの限界を把握して全要素を利用できるようにする。そのためには、項目を構成する要素をすべて用いて、評価するように係数の配点を考慮する。

3. 評価項目のカテゴリに関する問題

項目のカテゴリを単純な線形の関係として記述したモデルで評価している。例として、患者数の選択肢が100人未満、100-1000人、1000人以上の3群に分けているが、重要であると判断するカテゴリが単純増加や単純減少でなく、至適カテゴリが存在する可能性である。得点を算出する際には、要素を構成するカテゴリごとに適した係数を算出する必要がある。

4. 班長調査の妥当性

班長の回答した項目を用いて、クラスター分析を行い、幾つかのクラスターを作成する。クラスターと治療研究対象疾患との分布を確認して、有意なクラスターが形成されるか否かを理解することは項目選定に一つの情報を提供することになる。

調査全体の限界

1. 調査項目の限界

特定疾患治療研究対象疾患の選定には、多くの判断基準が利用されており、今回の調査票では対象疾患の有無を判断するのに十分な項目が調査されていない問題が指摘される。

2. 疾患単位の認定

対象疾患が疾患単位で決定されているが、進行や重症度により給付の必要性が異なる場合が予想される。SLEでは安定期にはほとんど日常生活にほとんど影響をしないが、入院治療などの要する場合に給付を必要とする状況が発生する。

3. 選定の多様性

治療対象疾患が複数の視点から決定されており、均質な疾患群として判断することができない。

今回の調査結果をもとに、評価基準が作成された際、治療研究対象疾患として判断する

感度、特異度をどのように設定するかの検討が残される。通常は、感度特異度が最大になる点を採用することが多いが、治療研究対象疾患として入ってくる疾患をより多く採択していくために感度を高くして特異度を低くすることが考えられる。

E. 研究発表

なし

III 班構成員名簿
