

厚生労働科学研究費補助金 政策科学推進事業

研究課題番号：H17-政策-004

医薬品・医療機器を対象とした
社会経済評価ガイドライン策定のための
エキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究

平成 18 年度 総括・分担報告書

主任研究者 鎌江 伊三夫

神戸大学 都市安全研究センター

平成 19 年 3 月

目 次

I. 総括研究報告	
医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のための エキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究	1
鎌江伊三夫	
II. 分担研究報告	
1. 新薬導入に対して容認できる増加費用に関する研究	7
白神誠	
2. 経済評価ガイドラインの要素に関する研究	13
福田敬	
3. カナダにおける経済評価ガイドラインの概要とわが国における適用可能性	21
(付録) HTA 医療技術の経済的評価のためのガイドライン：カナダ	
池田俊也	
4. 米国における疾病管理の事例とわが国への適応可能性	121
坂巻弘之	
5. 我が国における経済評価ガイドライン策定に関する現実的課題に関する研究	209
(資料) 業界向け指針 患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome) の測定法： 医療用製品開発における効能表示を裏付けるための方法 (表紙のみ)	
柳沢振一郎	
III. 研究成果の刊行に関する一覧表	215
IV. 研究成果の刊行物・別刷	217

I. 総括研究報告

厚生労働科学研究費補助金（政策科学推進研究事業）

医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のための

エキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究

総括研究報告書

主任研究者 鎌江伊三夫 神戸大学都市安全研究センター 教授

研究要旨

本研究では、国際的な最近の動向に基づき、医薬品および医療機器の社会経済的評価分析のためのガイドライン案作成に関して、我が国で求められる要件について検討した。将来的な保険償還への対応可能性を視野にいれ、平成 17 年度よりの研究継続として、欧米およびアジア各国のガイドラインの最新動向をさらに吟味するとともに、我が国の保険システムにいかに関わり込むかの方法論とその実現性についてエキスパートのコンセンサス形成をはかった。薬価算定の参考資料作成のためのガイドライン化が、我が国において価値を反映する医療を実現するための重要なステップとなることを確認するとともに、備えるべき環境条件等を明らかにした。

分担研究者氏名

白神 誠・日本大学薬学部

薬事管理学研究室 教授

福田 敬・東京大学大学院薬学系研究科

医薬政策学講座 助教授

池田俊也・国際医療福祉大学薬学部薬学科

公衆衛生学・医薬経済学担当

教授

坂巻弘之・名城大学薬学部医療薬学科

臨床経済学教室 教授

柳沢振一郎・神戸大学

都市安全研究センター 講師

A. 研究目的

本研究の目的は、厚生行政施策の科学的立案の見地から、近年、国際的に制定の動向が加速されている医薬経済評価ガイドライン（PEガイドライン）を我が国においても策定する準備として、参画専門研究者間の共通認識コンセンサスを確立し、エキスパート集団としての具体案を示すと共に、国際的潮流に即応したその法制化への緊急提言を行うことである。

B. 研究方法

平成 17 年度よりの継続として、平成 18 年度は経済評価ガイドライン制定への提言に向け、DPC 試行下の薬剤選択の調査にむけたフ

アックスアンケートの分析、我が国のコストテーブル作成、ガイドライン実現のための医療費増分の許容範囲の測定法、経済評価分析結果の医療費償還への理論化、および、それに基づく妥当な具体的方策の立案に取り組んだ。また、インターネットとEメールを用いたインタビュー調査により、医薬品政策への薬剤経済学応用について近年目覚ましい変化を生じているドイツならびに韓国のPEガイドライン事情を調査し、それらの翻訳を行った。さらに、PEガイドラインに関係して新たに導入が予定されることとなった米国FDAのPRO (Patient-reported outcome; 患者回答アウトカム) ガイダンスの日本語訳を作成し、その我が国に及ぼす影響や意義について検討した。それらの最新情報に基づき、PEガイドラインの日本での導入可能性、および導入された場合の具体策を策定し、シナリオ別の予測される効果の推定や問題点の分析を行った。その際、32のキー項目について、班員それぞれが、我が国での具体案を作成し、比較検討した。また、国内の関連学会 (ISPORの日本部会) との連携によりコンセンサス形成を踏るとともに、最終的には我が国でのPEガイドラインの法制化への方向性に対して参加研究者間の共通認識を確立することを試み、専門家集団としての具体案を提言することとした。

(倫理面への配慮)

本研究については、現行医療システムへの医療経済評価の及ぼす影響と、導入に関する

提言が主題となるため、倫理的問題は生じない。

C. 研究結果

まず、分担研究者それぞれにより、平成17年度よりの継続した研究を実施し、個別の結果を得た。

すなわち、分担研究者・白神は、薬剤経済分析を新医薬品の薬価算定に活用するための環境整備の一環として新薬を導入することによりどの程度の増加額であれば容認できるか (閾値) を明らかにすることを目的に二つの方法で閾値の算出を行った。第1に新医薬品の臨床試験成績及び中医協薬価算定資料を基に高脂血症薬を対象に算出した。ガイドラインに基づきLDLコレステロールが治療目標に到達した患者をアウトカムとした増分費用効果比は、1日当たり17.6円から150.9円であった。第2に被保険者を対象にWTPの手法により算出を試みているが、現在調査中である。

分担研究者・福田は、経済評価のガイドライン作成に向けて必要とされる要素として、日本における標準的なコストテーブルおよびQALY算出のためのQOL評価尺度の利用可能性について検討した。またコンセンサス形成に向けて、医療経済評価の研究者および企業の方にアンケート調査を行い、経済評価ガイドラインの必要性や作成方法、内容について尋ねた。その結果、日本で利用できそうなコストデータソースはあるものの、標準的な値と

してどれを用いるべきかはさらに検討が必要と考えられた。また QOL 評価尺度については日本で簡易に算出できるものが少なく、今後の整備が必要である。ガイドラインの必要性については、研究者、企業の双方で認識されているが、内容については目的に応じた提示が必要であると考えられた。

分担研究者・池田は、カナダにおける医薬品および医療機器を対象とした経済評価ガイドライン第3版（2006年3月に刊行）の内容を詳細に吟味するとともに、具体的な事例を用いてガイドラインに準拠した分析を実施することにより、わが国における適用可能性と課題について検討を行った。その結果、本ガイドラインで規定された項目のうち多くの部分についてはわが国においても適用可能であったが、本ガイドラインで推奨されている費用効用分析の実施に関する環境が整備されていないことが課題であると考えられた。今後、費用効用分析を実施するための効用値測定の手法について研究を進展させることが急務であると考えられた。

分担研究者・坂巻は、韓国での薬剤経済学利用に至った経緯ならびに研究の現状を明らかにすることを目的として、韓国における薬剤経済学に関する研究論文、関連文献の収集、インターネット調査、メールインタビューをもとに現状調査を行い、わが国への示唆を考察した。韓国は2006年10月から「選別登録システム (Positive List)」を導入すると

もに、そこでの薬剤経済学データの利用が決定されている。その結果、韓国では自国での薬剤経済学研究は進んでおらず、海外研究を参考にせざるを得ないと考えられる。わが国でも同様の状況であり、海外研究の利用を念頭においたガイドラインの開発が必要と考えた。

分担研究者・柳沢は、我が国の医療制度の中に経済評価を導入する際、解決しなければならない問題と限界について検討を行った。本研究は、2006年に中国と韓国で経済評価ガイドラインが国によって定められ、アジアにおいても経済評価が医療政策に取り入れられる時代が到来しつつあることを背景としている。結果、今後は臨床研究より得られるアウトカムデータの絶対的不足、特に PRO (Patient-Reported Outcome) と呼ばれる患者 QOL のデータ収集に関する整備が不可欠となるが、その整備を進めると同時に、整備の状況にあわせたガイドラインの見直を前提とし、その運用をめざす方策が有効であると考えられた。

以上のような分担研究を通して、さらに全員による討議を重ね、以下のような研究結果を得た。

- 1) 国内外の先行研究に検討を加え、PE ガイドライン制定への技術的問題点を明らかにした。
- 2) DPC 試行下での薬剤経済学研究の利用可能性、薬剤経済評価データの使用実態および必

要性について分析し、現状とニーズの乖離を明らかにした。

3) ドイツならびに韓国の最新 PE ガイドライン事情を調査し、それらの翻訳を行った。

4) 米国 FDA の PRO ガイダンス日本語版を作成し、その我が国に及ぼす影響や意義について検討した。

5) PE ガイドラインとともに経済評価分析に必要なとなるコストの標準化を目標とした、コストテーブルの国際的現状と問題点、今後の我が国でのあり方について検討した。

6) 医療費償還への具体的方策の検討をすることにより、経済評価データの薬価算定への適用可能性、薬剤経済学上の理論的フレーム、および経済評価に基づく薬価算定ルールの可能性、さらには、PE ガイドライン導入に伴う薬価算定の新ルールが医療費の増減に与える財政的インパクトについての制限条件を探り、ガイドライン活用のための今後の環境整備について検討を加えた。

7) 国内関連学会や医療経済研究機構に産官学の開かれた議論の場を形成し、PE ガイドラインに関するコンセンサス形成をはかった。

8) これらの研究結果を総合し、最終的に薬価算定の参考資料作成のためのガイドライン案を総合報告書において提示した。

D. 考察

本研究において提示したガイドライン案の現実的な活用については、今後、産官学のコ

ンセンサス形成が必要であり、課題として残されている。特に、ガイドライン案の学術的、理論的背景を理解する人材養成が今後ますます重要であり、向後 1-2 年は、ガイドラインに関する意義と技法についての教育が必須であろう。

我が国においてもエビデンスに基づく医療政策の立案・実施の観点から、科学的に正当な PE ガイドラインの導入を実現し、許認可申請書式の統一、保険償還の科学的方法論の確立、経済評価研究の標準的デザインの提示、経済評価研究の評価のテンプレートとしての活用などを確立しなければならない。これら PE ガイドライン案への一般的ニーズについて、我が国での研究実績を有する専門家間でのコンセンサスを得たことは多いに評価されよう。特に、今回の PE ガイドライン案は、薬価算定の参考資料作成のためのガイドライン基本案としての役割を果たすことが可能である。それはまた、医療の価値を評価して政策に活かす科学に関する研究の実例としての意義をもつ。さらに、その教育および実践を通して、世界第 2 位の医薬品市場を有する学術立国としての我が国の国際的リーダーシップの確立が期待される。

E. 結論

本研究では、我が国の代表的研究者による集学的アプローチとコンセンサス形成に基づき、医薬品および医療機器を対象とした社会

経済的分析評価ガイドライン案を示した。それは、我が国の現行の薬価制度と国際標準での薬剤経済学的知見との整合をはかる点で画期的である。同時に、保険償還や薬価算定への対応可能性について検討を加え、その方法についての緊急提言を行った。欧米およびアジア各国のガイドライン策定への急速な変化が観察される今日、わが国の政策科学の国際的整合性を確保するためには、海外での研究データの利用を念頭に置いて、我が国の政府レベルでの PE ガイドライン開発と制定が必要であると結論された。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

1) Isao Kamae, Pharmacoeconomics and Outcomes Research in Asia-Pacific: Health Economics in Japan: Dawning or Staggering? ISPOR 2nd Asia-Pacific Conference, Shanghai, China, March 2006.

2) Diana Brixner, Gary Oderda, Gabor Vincze, Isao Kamae, Retrospective Databases in the United States, Europe and Asia. ISPOR 2nd Asia-Pacific Conference, Shanghai, China, March 2006.

3) Isao Kamae, Medical Device Outcomes Research Issues. Medical Device and Diagnostics Council Forum, ISPOR 2nd Asia-Pacific Conference, Shanghai, China, March 2006.

4) Isao Kamae, ISPOR Japan Chapter. ISPOR Local Chapters Outcomes Research Initiatives, ISPOR 2nd Asia-Pacific Conference, Shanghai, China, March 2006.

5) Yanagisawa S, Kamae I, Oderda GM, Otsuka M, Jorgenson J, Otsuka K, Brixner D, Outcomes and Costs of Generic and Trade Ranitidine Use in the United States and Japan. ISPOR 2nd Asia-Pacific Conference, Shanghai, China, March 2006.

6) Kamae I, The Review of Healthcare and Financing Policy in Japan. Japan-U.S. Collaboration Meeting, Tufts-New England Medical Center, October 2006.

7) Kamae I, The Future Health Financing Policy in Japan. Regional Conference on Cost-effective Healthcare 2006, Singapore, October 2006.

8) 下妻晃二郎, 池田俊也, 福田敬, 坂巻弘之, 鎌江伊三夫, 米国 FDA・PRO 指針<日本語版>翻訳について. ISPOR 日本部会第 2 回学術集会, 2006, 11

H. 知的所有権の取得状況の出願・登録状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

II. 分担研究報告

厚生労働科学研究費補助金（政策科学推進 研究事業）

医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のための

エキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究

分担研究報告書

新薬導入に対して容認できる増加費用に関する研究

分担研究者 白神 誠 日本大学薬学部 教授

研究要旨

厚生労働科学研究費補助金（平成 13～15 年度）により新医薬品薬価算定のための薬剤経済分析ガイドライン（案）を作成・提案した。これは現行の薬価算定ルールを念頭に採用可能な現実的なガイドラインの作成を目指したものであったが、薬剤経済分析を新医薬品の薬価算定に活用するには、なお環境整備が必要である。そこで、本分担研究では環境整備の一環として新薬を導入することにより増加する費用についてどの程度の額であれば容認できると思われるかについて明らかにすることを目的とした。まず新医薬品の臨床試験成績と中医協の薬価算定資料から、増分費用効果比に対する閾値の推計を高脂血症治療薬を材料に試みた。LDL-C について治療目標に到達できる患者を 1 人追加するために必要な 1 日あたりの費用は、17.6 円から 150.9 円（外国価格調整を除外すると 106.4 円）となった。一方、被保険者に対し「高脂血症で、50%有効な薬剤 A ではコレステロール値を下げるができなかったと想像したときの、残りの 20%に有効な薬剤 B を使用するための自己負担額」についての支払意思額をたずねたところ、平均値は 1939 円（1 日あたり 65 円）であった。

A. 研究目的

厚生労働科学研究費補助金（平成 13～15 年度）により新医薬品薬価算定のための薬剤経済分析ガイドライン（案）を作成・提案した。これは現行の薬価算定ルールを念頭に採用可能な現実的なガイドラインの作成を目指したものであったが、薬剤経済分析を新医薬品の薬価算定に活用するには、なお環境整備が必要である。そこで、本分担研究では環境整備の一環として新薬を導入することにより増加する費用について、どの程度

の額であれば容認できると思われるかについて明らかにすることを目的とした。

B. 研究方法

新薬を導入することにより増加する費用についてどの程度の額であれば容認できると思われるかについては、以下の方法により調査・検討した。

1) これまでに類似薬効比較方式により薬価が算定された新医薬品について、どの程度の有効性

の差に対してどの程度の額が加算されたかを、中医協資料等を基に算出した。この場合、新医薬品の有効性については、比較臨床試験成績を基にそれぞれの医薬品により治療目標に到達させることができた患者数を推計し、その差を増分効果とした。例えば、高脂血症治療薬では、公表されている「動脈硬化疾患診療ガイドライン 2002 年版」では治療目標とされるコレステロール値が示されているので、この値までコレステロール値を減少させることができたと思われる患者の割合を Wilson¹⁾ らの方法に準拠して推計し、この患者の割合を持ってその薬剤の効果とした。

具体的には、臨床試験成績を基に投与前の患者のコレステロール値の分布を推計し、ガイドラインの治療目標値に到達するのに必要なコレステロール値の減少率をそれぞれ求める。次に臨床試験成績における各薬剤の平均減少率から減少率の分布を求め、これと先に求めた治療目標値に到達するのに必要な減少率とから治療目標に到達すると思われる患者の割合を推計した。

2) 容認できる額を被保険者が容認できる額と考え、被保険者である一般消費者に対しインターネットを用いてアンケート調査を行い WTP の手法を用いてその額を推定した。アンケートを行うに当たって以下のシナリオを回答者に示した上で、いくつかの質問を行った。このシナリオは、上記 1) のアトルバスタチンからロスバスタチンへの変更を想定したものである。

高脂血症というのは、血液中のコレステロールや中性脂肪（代表的なものはトリグリセリド）が、多過ぎる病気のことです。放置すると動脈硬化を引き起こし、ついには、心筋梗塞や脳梗塞の発作を起こす恐れがあります。そこで、高脂血症の人には血液中のコレステロール等を下げる薬物治療が行われています。

薬剤 A は、約 50% の人のコレステロール値を下げることができ、医療保険の対象となっています。新たに薬剤 B が開発されました。薬剤 B は、薬剤 A でコレステロール値を下げるができなかった人の 20% の人（初めから使用すれば 60% の人）のコレステロール値を下げるができます。しかし、薬剤 B を使用するためには薬剤 A との差額は自己負担しなければなりません。

（倫理面への配慮）

一般消費者を対象とする調査の実施については、個人情報保護法に基づくプライバシーマーク認定業者に委託し、当方は個人名が特定されない形で結果のみを入手した。

C. 研究結果

1) 新医薬品の臨床試験成績及び中医協薬価算定資料に基づく推計

高脂血症薬を対象に検討を行った。高脂血症薬のうち中医協資料により薬価算定根拠が公表されているものは、フルバスタチン、ピタバスタチン、アトルバスタチン及びロスバスタチンの 4 種であった。フルバスタチン、ピタバスタチン及び

薬剤(対照薬剤)	増分効果 (人)	増分費用 (円/日)	増分 費用効果比
フルバスタチン(プラバスタチン)	1	0	0
アトルバスタチン(プラバスタチン)	410	7200	17.6
ピタバスタチン(プラバスタチン)	324	11700	36.1
ロスバスタチン (アトルバスタチン)	108	16300	150.9
(外国価格調整前)		11500	106.4

表1 1000人治療した場合の高脂血症薬剤の増分費用効果比

アトルバスタチンはプラバスタチンをまた、ロスバスタチンはアトルバスタチンを比較対照薬に類似薬効比較方式により薬価算定が行われていた。またフルバスタチンを除く3成分には加算が認められている。さらにロスバスタチンでは海外価格調整の結果引き上げが行われている。

これらの高脂血症薬の臨床試験では、薬剤投与前のコレステロール値と投与後のコレステロール値の差の平均値を用いて臨床評価が行われている。しかしコレステロール値そのものを用いて増分費用効果比を求める際の増分効果とすることは不適當である。なぜならば、コレステロール値が単位コレステロール値分下がることの意味が投与前コレステロール値によって異なるからである。そこで、臨床試験成績を利用して治療目標に到達できたと思われる患者の割合を Wilson らの方法に準拠して推計し、この患者の割合を持ってその薬剤の効果とした。

4つの高脂血症薬のLDL-Cを対象としたときの増分効果、増分費用及び増分費用効果比は表1のとおりである。治療目標に到達できる患者を1人

追加するために必要な1日あたりの費用は、17.6円から150.9円(外国価格調整を除外すると106.4円)となった。これを図示したのが図1である。同様にTCを対象としたときの増分費用効果比は19.2円から452.8円(外国価格調整を除外すると319.4円)となった。

1000人治療した場合の高脂血症薬剤の増分費用効果比(LDL-C)

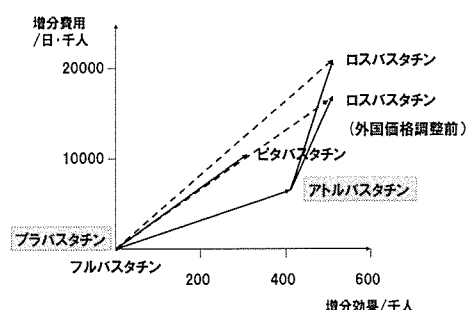


図1 1000人治療した場合の高脂血症薬剤の増分費用効果比

2) WTP に基づく推計

アンケートは20代から50代まで、各年代100名ずつ計400名に対して行った。

まず「あなたが高脂血症で、薬剤A (50%有効) ではコレステロール値を下げることはできなか

ったと想像してください。」とした上で、薬剤 B (残りの 20%に有効) を使用するための受け入れられる 1 ヶ月あたりの自己負担額についてたずねたところ平均値は 1939 円 (具体的な数字を答えた「その他」を除くと 1323 円) であった。この金額は 1 日当たり約 65 円 (「その他」を除くと 44 円) であり、1) で求めた増分費用効果比 150.9 円 (または 106.4 円) に比べ低かった。しかし、これを 3 割の自己負担分と考え、217 円 (147 円) となる。

次に薬剤 A の値段は 1 ヶ月約 4500 円 (医療保険の一部負担金 1350 円) であることを示して、これについて高いと思うかどうかをたずねた。その結果 79.3%が高いまたはどちらかといえば高いと回答した。薬剤 A の値段を聞いた後で、自己負担額の考えが変わった人は 19.3%で、その結果平均値は 1739 円 (1 日あたり 58 円)、「その他」を除くと 1259 円 (1 日あたり 42 円) となった。

この自己負担額を、高脂血症患者であるかどうか、健康食品やサプリメントをよく購入するかどうか、年代、性別、年収、加入している医療保険の種類について層別した。「その他」を除いて集計し、平均値を求めた結果、高脂血症と指摘されたことがある人では、現在治療中かどうかに関わらず 1300 円台であったのに対して、指摘されなかった人では、884 円であった。年代別では、20 代が 995 円であったのに対し、50 代では 1739 円であった。年収に関しては、300 万未満では 1175 円が 900 万円以上では 1500 円台と年収に応じて高くなる傾向が見られた。加入している医療保険

の種類では、政管健保で 1156 円であるのに対して、共済では、1518 円であった。健康食品等を購入するかどうか、性別では大きな違いは見られなかった。

D. 考察

薬価制度改革にあたって、しばしば「価値に見合った薬価を」という主張がなされる。そもそも「価値」とは誰にとっての価値なのだろうか。さらに、その価値をどうやって求めるのだろうか。薬価という以上は「価値」は医療費の負担と関連させざるを得ない。つまり、「価値」の対象となるのは患者と保険者と国である。

患者にとっての価値は、病気が治ること、症状が改善すること、病気が予防できることなど、期待した効果が得られることと考えることができる。したがって、期待した効果が得られなければ価値はないし、治療に結びつかない診断には価値がほとんどない。このような価値の大きさを患者自身に表現させることは容易ではない。なぜなら患者は治療をしないということと引き換えにある治療法の上限価格を決めることはできないのではないかと考えるからである。また、治療法のいわゆる有効率を考慮して価値の大きさを患者に求めるのも容易ではない。なぜならば、患者にとっての価値は期待した効果が得られたことによって発生するので、この価格なら効果が得られなかったとしても仕方ない、というような割り切りはできないのではないかと考えるからである。そこで一つの方法として、患者の価値の大きさを

医者などの医療専門家に代弁させることが考えられる。

保険者にとっての価値は保険料をどう配分するかによって決定される。これは被保険者にとっての価値と見ることができる。つまり、自分たちが納めた保険料がどのように使われるべきかという考えである。この被保険者にとっての価値の大きさを、被保険者にアンケート等により尋ねる方法を提案したい。具体的には、ある薬剤の投与により得られる効果に対していくらまで保険から支払うべきか、いくら以上は自己負担とすべきかをたずねる。この方法だと、薬剤の投与により得られるあらゆる効果に対してそれぞれ金額を尋ねる必要があるが、実際には被保険者はそれほど細かく区別はしないのではないと思われる。

ところでこの金額は期待される効果が得られた場合の金額である。しかし実際には薬剤の投与は期待される効果が得られなかったケースに対しても行われる。したがって、薬剤の投与に対して認められる価格は、

「被保険者により決められた価格×有効であった患者数÷薬剤の投与が行われた患者数＝被保険者により決められた価格×有効率」で表されることになる。

国にとっての価値は税金の使い道として評価される。国にとって病気を治療することは価値があるのであろうか。延命治療や、高齢者への介入など生産性の向上に寄与しないことに税金を投入することの意味づけをどう考えたらよいのであろうか。そこで、国民一人ひとりが健康で文化

的な最低限度の生活を営む権利があり、それを達成するのは国の義務であるという憲法第 25 条を前提に考えてみたい。すなわち国民一人ひとりについて健康で文化的な最低限度の生活を営ませるために必要な資金を国は用意しなければならないと考えるのである。そして、健康な人については、既にその資金を支出しており、健康でない人には、その一部を支出して、最低限度の生活にいたるまでの残りの資金を留保していると考えるのである。したがって、何らかの薬剤の投与により健康が回復すれば、留保している資金がその薬剤の投与のために支払われると考え、その金額を薬剤の価格とするのである。例えば、最低限度の生活が営まれる状態を 1、死亡を 0 と仮定し、最低限度の生活を営ませるために国が用意している資金を Y 円とする。ある健康状態が 0.3 で表されるとすると、この患者に対して国は既に 0.3Y 円を支出し、0.7Y 円留保していると考え。ある薬剤の投与により平均 0.8 で表される状態まで回復させることができるとすると、この薬剤に対して、0.5Y 円の価格を適用するのである。もしそれが平均 10 日で実現するのであれば 1 日あたりの価格は 0.05Y 円であり、50 日要するのであれば、0.01Y 円である。

問題は最低限度の生活を営ませるために国が用意している資金（上の例での Y 円）をいくらとするかであるが、生活保護の給付金、年金、遺族年金などから推計してはどうかと考えるが、さらに検討が必要である。一方薬剤の投与により得られる効果については、臨床試験の前後に患者に食

事や、外出や、趣味や、仕事や、付き合いなど満足できる状態を1としたときの現在の状況を尋ねることで、その変化量より求めることを提案する。

ちなみに、今回高脂血症薬で推計した治療目標に到達できる患者を1人追加するために必要な1日あたりの費用は高脂血症の状態から回復することに対する国の考える価値とみなすことができるであろう。

E. 結論

新医薬品の臨床試験成績と中医協の薬価算定資料から、増分費用効果比に対する閾値の推計を高脂血症治療薬を材料に試みた。LDL-Cについて治療目標に到達できる患者を1人追加するために必要な1日あたりの費用は、17.6円から150.9円(外国価格調整を除外すると106.4円)となった。一方、「高脂血症で、50%有効な薬剤Aではコレステロール値を下げるができなかったと想像したときの、残りの20%に有効な薬剤Bを使用するための自己負担額についての支払意思額をたずねたところ、平均値は1939円(1日あたり65円)であった。

さらに「価値に見合った薬価」という主張を考察し、被保険者にとっての価値と考えるならば、その大きさを被保険者にアンケート等により尋ねる方法を提案した。また国にとっての価値と考えるならば、国には国民に最低限度の生活を営ませる義務がありそのための資金を用意していると仮定した上で、その資金の額については、生活保護の給付金、年金、遺族年金などから推計し、

また薬剤の投与により得られる効果については、臨床試験の前後に患者に食事や、外出や、趣味や、仕事や、付き合いなど満足できる状態を1としたときの現在の状況を尋ねることで、その変化量より求めることを提案した。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

第3回医薬品レギュラトリーサイエンスフォーラム(日本薬学会レギュラトリーサイエンス部会主催)。平成18年10月26日

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし

(参考文献)

1) K. Wilson, J. Marriott, S. Fuller, L. Lacey and D. Gillen : A Model to Assess the Cost Effectiveness of Statins in Achieving the UK National Service Framework Target Cholesterol Levels, *Pharmacoeconomics*, 21Suppl. 1, 1-11 (2003)

厚生労働科学研究費補助金（政策科学推進研究事業）

「医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のための

エキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究」

分担研究報告書

経済評価ガイドラインの要素に関する研究

分担研究者 福田 敬 東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 客員助教授

研究要旨

経済評価のガイドライン作成に向けて必要とされる要素として、日本における標準的なコストテーブルおよびQALY算出のためのQOL評価尺度の利用可能性について検討した。またコンセンサス形成に向けて、医療経済評価の研究者および企業の方にアンケート調査を行い、経済評価ガイドラインの必要性や作成方法、内容について尋ねた。その結果、日本で利用できそうなコストデータソースはあるものの、標準的な値としてどれを用いるべきかはさらに検討が必要と考えられた。またQOL評価尺度については日本で簡易に算出できるものが少なく、今後の整備が必要である。ガイドラインの必要性については、研究者、企業の双方で認識されているが、内容については目的に応じた提示が必要であると考えられた。

A. 研究目的

医薬品や医療機器の経済評価を行う際には、コストおよびアウトカムの測定が必要である。しかも評価結果を医療資源配分の意思決定に利用するのであれば、結果の比較可能性が必要であり、標準的な測定方法が求められる。

本研究ではまず標準的なコストの算出方法として日本におけるコストデータのデータソースについて検討し、またアウトカムについては、費用効用分析における質調整生存年（QALY: Quality Adjusted Life Years）算出のためのQOL評価尺度について検討する。

また諸外国の例として、ドイツのIQWiGにおける活動を紹介する。

さらに、経済評価ガイドラインのコンセンサス形成に向けて、ガイドラインの必要性や作成方法、内容等について専門家へのアンケート調査を実施し、意見の集約を行う。

B. 研究方法

1. 標準的なコストテーブル

日本において利用可能なコストデータソースを列挙し、その特徴や課題について検討する。

2. QOL 評価尺度

QOL 評価尺度のうち、QALY 算出に用いることができる方法で、実施が容易な Indirect Measurement の方法についてレビューし、日本での利用可能性について検討する。

3. ドイツ IQWiG の活動

ドイツの IQWiG での最近の活動について現地でのヒアリングに基づいて報告する。

4. コンセンサス形成に向けたアンケート調査

医療経済研究機構における薬剤経済評価を用いた薬剤給付制度に関する研究会に参加している医療経済評価の研究者および医薬品および医療機器メーカーの方にアンケート調査を実施した。調査は、1) 経済評価ガイドラインの必要性、2) ガイドラインは日本独自であるべきか、3) ガイドライン作成の方法、4) ガイドラインの内容について自由記載の形式で行った。

(倫理面への配慮)

本研究は主に既存の公表データおよび文献資料を用いたものであり、倫理面での問題は生じない。またアンケート調査については、対象者に調査の趣旨を説明し、無記名で実施した。

C. 研究結果

1. 標準的なコストテーブル

日本では、診療報酬点数表および薬価基

準により公的医療保険制度における価格が示され、原則として2年に1度改定されているため、医療費支払者という立場からはこれらの点数を用いることは妥当であると考えられる。しかし、疾患ごとの費用算出をするなどの場合には、診療方法の標準化が必要であり、入院医療におけるクリニカルパスに準じた計算などの工夫が必要である。

実際に行った行為のコストとして診療報酬請求明細書(レセプト)がある。しかしこのデータを医療機関または保険者から収集するには容易でない。2011年度を目処にすすめられているレセプトの電子化とナショナルデータベース作成プロジェクトにより、データソースの利用性が高まるものと期待される。

また、レセプトデータを定期的に収集・分析しているものとして、厚生労働省による社会医療診療行為別調査がある。しかし、1入院単位等の算出は難しい。

他のデータソースとして、2003年度より特定機能病院の入院医療の支払いに用いられているDPC (Diagnosis Procedure Combination) 分類を用いた包括評価・支払い方式のデータがある。これは、細かな疾病分類によるコストが把握できるが、報酬額と決められた点数には、手術等の出来高払いによる支払い部分を含まないため、これを用いた推計では過小評価になることには注意が必要である。

2. QOL 評価尺度

QALY 算出のための QOL 評価尺度としては、Time Trade-Off や Standard Gamble 等の直接測定法 (Direct measurement) がある。しかし、この方法は回答者への負担が大きいため、患者に対して調査するには、より簡便な方法が望まれる。そこで近年取り組まれているアプローチとして Profile 型の QOL 評価尺度から QOL 評価値を推計する間接測定法 (Indirect measurement) がある。ただし、この方法を用いる場合には、該当の Profile 型の評価尺度が日本語で利用できることと、そこから QOL 評価値を推計するための重み付け計算の式が日本人の選好調査に基づいて定められていることが必要である。そこで、一般的に用いられている尺度について文献調査を行ったところ、以下の通りであった。

Indirect measurementからの換算方法

	調査票日本語版	海外Tariff	日本Tariff
EQ-5D	○	○	○
HUI	○	○	×
SF-36	○	○ 複数)	△
SF-12	×	○	×
SF-8	○	×	×
QWB	×	○	×

EQ-5D (EuroQol 5 dimension) は 5 次元 3 段階の尺度で、日本語版と日本での QOL 評価値の推計式が開発され、利用可能となっている。HUI (Health Utilities Index) については、調査票の日本語版は作成されているものの、推計式は海外調査に基づくもののみであり、

日本での適用可能性には課題がある。SF (Short Form)-36 は 36 項目の質問からなる調査票で 8 次元への集約ができる。正式な日本語版が作成されており、調査の実施が可能である。海外ではこれからさらに QOL 評価値の推計ができる方法が複数提案されている。日本では同様の調査が行われ学会報告はあるものの、まだ正式に利用可能な状態ではない。項目を減らした SF-12 は海外では QOL 評価値の推計が可能になっているが、日本語版が作成されていない。また、SF-8 については日本語版があるものの重み付けの推計式が作成されていない。QWB (Quality of Well-Being) については、QOL 評価値の推計を目的に作成されているため、海外ではこの計算が可能になっているが、日本語版が存在しない。

このように現時点では日本で利用可能な間接測定法を用いた QOL 評価値の推計方法は EQ-5D しかなく、今後いくつかの尺度が利用可能となるように日本語版および重み付けの作成が望まれる。またこれらは全てもとは海外で作成されたものであり、日本人のライフスタイルや選好を考慮した QOL 評価法の検討も望まれる。

3. ドイツ IQWiG の活動

ドイツには、医療提供の透明性と質の向上を図るための専門組織として「保健サービスの質と経済性評価機構 (Institute für Qualität und Wirtschaftlichkeit im

Gesundheitswesen: IQWiG)」がある。IQWiGでは科学的根拠に基づく客観的な評価を実施し、最適な資源配分の意味決定に役立てることを目的としている。これまでは、主に新規技術や医薬品の有効性や安全性について、画期的なものであるかどうかの判断などを行ってきた。しかし、医薬品については薬剤費抑制の観点から、新規医薬品についても、特に著しい画期性が認められない医薬品については、これまでの自由価格制から償還上限価格の設定に向けて制度変更がなされようとしている。償還上限価格の設定には経済評価を用いることになり、IQWiGがその評価を担当する。具体的には英国のNICE (National Institute for Health and Clinical Excellence) などと協力しながら評価を実施する予定とのことであるが、具体的な評価方法は提示されておらず、2007~8年頃に経済評価ガイドラインが作成されるものと思われる。医薬品の償還上限価格の設定に経済評価を用いるという試みは、薬価基準制度をもつ我が国にも参考になると考えられ、今後の同行に注意が必要である。

4. コンセンサス形成に向けたアンケート調査

アンケート調査は4人の研究者および9人の企業関係者から結果を得た。

1) 経済評価の方法についてのガイドラインの必要性について

研究者からも企業関係者からも必要であるという意見が大半を占めた。特に経済評価の結果を政策的な意思決定に利用するのであればその標準的な方法を示すガイドラインは必要であるという意見が多かった。

2) ガイドラインは日本独自のものであるべきか

ガイドラインを作成する際に諸外国のものと類似したものが良いか、日本独自のものであるべきかを尋ねたところ、双方の意見が得られた。諸外国のものと類似しているべきだという意見の理由としては、医薬品開発がグローバル化している中で、グローバルスタンダードに準じるものの方が良いという意見や、他国で提出しているデータに準拠する形で提出できる方が企業の負担が少ないなどの意見があった。逆に日本独自のものであるべきだという理由としては、日本の医療環境や制度等が諸外国とは異なるため、それを反映したものであるべきだという意見があった。全体としては、ガイドラインに必要な項目や基本的コンセプトはどの国でも共通であるべきで、内容について一部日本の状況を反映したものにする必要があると考えられる。

3) ガイドラインの作成方法について

ガイドラインを作成するためのメンバーや作成プロセスなどについて尋ねたところ、作成には行政、研究者、企業の代表者がチームを作成して作るべきであるという意見が多かった。産官学の共同での作成としては、ICH