

## (2) テーマ

今年のテーマは、「Innovation and value」に設定されていた。これは、NICEの委託を受けて作成され2009年7月に公表された、通称『Kennedy Study』<sup>25</sup>を受けてのものである。著者は Ian Kennedy (UCL 医療法・倫理・政策学名誉教授) である。題名が示すとおり、NICEの各種査定プログラムの中にかにに取り込むか、という取り組みについての提言をまとめたものである。25の提言からなるが、現在使われている QALY 指標の向上のための定期的見直しや、手続きや条件の透明化など、既存の体系の改善に関係するもの以外で、より正面から「イノベーション」を取り上げている提言もある。そうした提言のうち、主なものは以下の通りである：

・社会的便益が NICE による査定に勘案されるべきか、されるのであればどのように勘案されるのか、についての NICE による研究委託もしくは研究への NICE の参加 (提言 7)

・価格に見合った価値 (value for money) をもたらさない製品の NHS による [償還対象からの] 除外に関する積極的な政策の形成に向けて、NICE が他機関と協働すべきこと (提言 12)

・NICE による、製薬企業へのインセンティブとしての、「イノベーション」に該当する場合はより高い [費用対便益比の許容] 閾値およびその一定期間の維持への合意、もしくは改定された PPRS の枠組みの利用への合意 (提言 15；抜粋)

<sup>25</sup> Kennedy I. Appraising the Value of Innovation and Other Benefits. July 22, 2009.

・NHS および患者の代表としての NICE による、サプライサイドのイノベーションを促進する調整策の政府への働きかけ (提言 17)

・イノベーションが [将来的に] 約束される製品についてのインセンティブ付けを行いつつ得るような正式かつ透明なプロセスの設置 (提言 20)

かねてより、NICE の費用対効果比の閾値<sup>26</sup>の運用に対しては、硬直的であるとする批判もあったが<sup>27</sup>、その閾値の設定根拠のひとつとして、イノベーションという観点から新たな光を当てたものと言えよう<sup>28</sup>。

## (3) ガイドライン・患者参加論へのインプリケーション

以下では、時間・場所いずれをも横断して、通論的に議論されていた点の中から、特に NICE の議論の特徴と考へ得るものについて論じる<sup>29</sup>。

<sup>26</sup> 閾値設定の根拠については、例えば、Rawlins MD, Culyer AJ. National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ* 2004;329:224-227.、Taylor RS, Drummond MF, Salkeld G, Sullivan SD. Inclusion of cost effectiveness in licensing requirements of new drugs: the fourth hurdle. *BMJ* 2004;329:972-975.、などを参照。

<sup>27</sup> NICE の対応については、例えば Steinbrook R. Saying No Isn't NICE — The Travails of Britain's National Institute for Health and Clinical Excellence. *N Engl J Med* 2008;359:1977-1979.、Raftery J. NICE and the challenge of cancer drugs. *BMJ* 2009;338:271-272.、などを参照。

<sup>28</sup> Kennedy Report については本報告の趣旨に納まらないテーマゆえ、関連のセッションでの議論内容を含め、また機をあらためて報告する。

<sup>29</sup> 並行していた全てのセッションに出席がなかったわけではないため、会議全般の印象とは必ずし

1) 患者による NICE の意思決定への参加の、方法論的意味づけ

①具体的チャンネルと抽象的査定指標との補完的關係

患者（団体）による NICE の意思決定への参加を、QALY 分析と相互に補完的な査定手段であるという位置づけの認識が見られた。民主主義や透明性・アカウントビリティといった単なる倫理的な原理原則に基づいたプロセスとするのみならず（あるいは社会からの批判に晒されたがゆえに体裁を整える目的に墮することなく）、具体的に、NICE のオペレーションたる査定の作業において積極的に意味を見出すべき手段として、患者・市民の参加は捉えられていた。

このうち、QALY は疾患・価値観横断的に、公平に、すべての患者の価値を NICE 査定に反映する回路と位置づけられる。特に、患者・市民による直接参加との対置の上では、社会的意思表示が可能な一部の集団（患者団体を含む）に含まれない人の価値判断をも包含するもの、としての意義が見出される。

他方で、当然のことながら、患者・市民という当事者による査定への関与であり、より実態に沿った意思決定につながる手段となる。また、PPIP (Patient and Public Involvement Programme) の面々が常々強調する「様々な関与の機会<sup>30)</sup>」も、単なる

も一致しないことにご留意・ご寛恕いただきたい。

<sup>30)</sup> 典型的には、1) NICE 本体の意思決定への関与、2) ガイドラインの作成への関与、3) ガイドラインの実施への協力、が挙げられている。このうち、1)の意思決定への関与としては、理事会メンバー

関与機会の拡大という観点からだけでなく、まさにその査定の質を高めるための現実的工夫、と捉えることも可能となる。

②透明化の限界に対する明示的認識と、患者参加の意義

他方で、全ての要素が完全に透明化できる、といった過剰な認識はない。エビデンスの政策的な利用という意味では先駆する欧州の中でも先頭に行く英国にあっても、そうである。それゆえに患者・市民の直接参加は重要になる、という、ある種古典的とも言える解釈により、参加を必要とする見解が聞かれた。

逆に、そうした手続き論的側面によってしか担保できないものがあるため、手続き面での透明性は求められる。ゆえに、患者参加に際しての機会・回路を用意・拡充した上で、患者団体・患者代表の選択基準の明確化や、異議申し立ての機会の設定などは課題として意識されている。

しかしそうした制約を認識しつつもなお、

---

などへの任命のほかに、Citizens Council への参加がある。2002年に設立されたこの委員会は、全ての委員が一般市民（および患者）からなる、アドバイザリー機能を持った委員会であり、市民の観点から NICE への提言を行う（NICEはこの提言に対して、公開の返答を行い、提言の諾否およびその理由、受諾の場合は実施の具体的手法を明示する義務を負っている）。一般市民30人から構成され、年2回の会合を持ち、これまで13の提言書を出している。2)のガイドライン作成への関与としては、a) ガイドラインを設定すべきトピックの提案、b) ガイドライン作成委員会への参加、c) 作成中ガイドラインに関連するエビデンスの提出、d) コメントの提出（ガイドラインの範囲・課題の決定に関するものと、ガイドライン案に対するものがある。この一連の過程で PPIP が関与を企図する患者（団体）をサポートするほか、この手続きのありよう自体のレビューにも関与している。

透明化・客観化への強いコミットメントが厳然と存在する。加えて、透明化・客観化の手法が不完全であったとしても、それに積極的に関わり、改善していくべきであるとの認識も明らかである。これは、Kennedy Study の中でも以下のように明確に述べられている：

I am aware that research may be necessary, but would urge that the need for research is not used as a reason not to proceed. It would be better to proceed experientially.<sup>31</sup>

実施に際しての細論・工夫はあり得るところだが、一般的原則としてこれは英国のみならず、全ての国の医療システムに該当することと言えよう。

2) エビデンス確立の取り組み：効率性、現状把握、情報提供

医療における資源配分を決定するにあたって、その妥当性を担保し得る手段がエビデンスであるとの認識は英国では常々感じられるが、その運用者として社会的な注目（そして批判）を受けてきている NICE においてそれがより強く感じられるとすれば言いすぎであろうか。

① 治験参加患者が、いわば「有限資源である」という認識

複数の場で、治験参加者は有限であり、治験は有効に設計・活用されなければならない、という認識に触れた。治験が相当数多い中でこれ以上の伸びしろが見出しにく

いがゆえの懸念である、とすべきか、治験の数よりも本質的なところで、臨床試験によって答え得る clinical question の範囲に現実的な限界があってしまう、いわば「(RCT 依存の) EBM の限界」とでも言うべき認識がもたらす切迫感ゆえなのかは、判断が分かれるところであろうか。

ただ、特に新薬の承認という観点からは基本的に各製薬メーカーの自主性に委ねられているところであり、社会の全体最適を念頭に「有効に設計・活用」するための具体的な（政策的）手段としてどのようなものがあり得るのかは、これからの議論が待たれるところである<sup>32</sup>。

② 膨大な数の RCT に比べて、残ったままの未解決の臨床的課題

上記の観点に関連して、膨大な数の RCT に比べればあまりにも多数の臨床的課題が未解決のまま残されている、という課題意識が挙げられていた。後述の Sean Tunis は（米国）1年当たり出版される RCT の数として 18,000 件という具体的数値に触れ<sup>33</sup>、この数に比して臨床的課題として、エビデンス構築によって解決を見ている課題が少ないと指摘していた。

英国ではこの点について、闇雲に積み上げ式にエビデンスによって解決を見たエリアを拡大するのではなく、「逆」、すなわち、エビデンスで解決を見ていない問題のエリアの特定をも行おうとしていた。これが

<sup>32</sup> 結果によって報告・利用の有無が選択されてしまう恣意性や、利益相反などへの懸念から始まった治験の全登録制だが、あるいはこうした文脈でも活用され得る手段と言えるかもしれない。

<sup>33</sup> 詳細は、see *infra* V.D.ii.b.

<sup>31</sup> Kennedy Report, Para. 3.9.

DUETs (Database of Uncertainties about the Effects of Treatments) である<sup>34</sup>。

### ③ 体系化・定量化のための各種施策

体系的・定量的把握のための施策に NHS が積極的であるという印象は、特に海外からの参加者であれば、誰しもの目に映じるのではなからうか。上記 DUETs の他にも、癌治療時の副作用のデータベースの構築や、サービスの質評価の各種枠組みなど、随所に、体系化された・体系化を志向した取り組みが見られた。

### ④ 情報・知識が利用され得る体制・ツール・インターフェースの整備への注力

患者用ガイドラインの発行も典型だが、NICE や NHS においては、情報や知識の着実な活用を可能にするためのツールやインターフェースの開発に余念がない。ガイドライン以外にも、専門家の意思決定をエビデンスの面から支えるものとして NHS Evidence というウェブサービスが NICE によって提供されており、また同様のサービスを患者側に提供するものとして NHS Choices という包括的なサービスも構築されている。アクセシビリティやユーザビリティにも配慮しているとの発言も当事者から相次いでいた。

加えて、NHS Evidence をはじめとしたウェブサービスでは、ユーザー側の利用動向(検索ワードのトレンドなど)を把握し、それをさらなる利便性向上や内容の拡充に際しての判断材料に生かしている。現代のウェブサービスでは当然と言えるかもしれないが、これも全国規模のインフラがあつ

<sup>34</sup> 詳細は、see *infra* V.A.iii。

てなお生きるものと言えよう。

### 3) 患者側の参加の積極性

#### ① 参加者の 1 割程度を占める患者団体・患者関連の活動の関係者

今年の会議は患者参加のテーマが昨年ほど多くなかったにも関わらず、参加者の 1 割程度が患者団体や患者関連の活動をしている関係者だった。NHS はもちろん、NICE が様々なプロセス・活動において患者団体や関連組織の関与を仰いでいる成果と言えようか。各種要因を抜きに結果論だけを述べれば、日本の各種学会における患者組織のプレゼンスに比べると、NICE 総会でのそれは圧倒的に大きなものであったことは間違いない。

ただし、参加費の面では課題がなお残っている、と指摘できるかもしれない。会議内のセッションでも、患者団体向けの割引価格で以ってなお 395 ポンド (約 6 万円) という参加費の設定が高い、という疑義が上がっていた。そうした参加費を払ってなお参加していた関係者は極めて意識も知見も高いものと推察されるが、他方でこの価格設定が患者団体参加者としてはハードルになったことは否めないであろう。国連に関連する会議では NGO の参加無料などの例もあるが、どういった(潜在的な)参加者層を対象に、どこまで柔軟な費用的対応をするかは、会議主催者側の意図にかかっていると見えようか<sup>35</sup>。

<sup>35</sup> もちろん、この課題は患者団体への安くするだけで円満に収まる課題ではないのは言を俟たない。NICE ではかなりの数の患者団体を特定・把握しているとは言え、患者団体の関連者であることを確

(4) PPIP (Patient and Public Involvement Programme)・患者参加の10年の総括

『Patients, the public and NICE: looking forward』と題したセッションの中で、PPIP (Patient and Public Involvement Programme) の Associate Director である Victoria Thomas によって報告が行われた。テーマは、患者・市民参加のこれまで10年の成果と、今後10年の展望についての報告であった。患者とガイドラインというテーマとは最も関連の高い報告であったゆえ、以下、詳論する。

#### 1) PPIP による主な達成事項

##### ①関与の確立とその手法のレビュー

明示化された PPI Policy (Patient and Public Involvement Policy) の下、患者や市民の関与という観点を徹底し、全ての NICE の活動・インフラストラクチャーへの患者・市民への関与を達成した、と自己評価を行っていた。ガイドラインに関して、既述の通り、様々な関与の回路を提供している<sup>36</sup>。さらに、これらの関与プロセスや手段について、全作業フロー・全階層にわたって、レビューを行っている。(後述の通り、まだまだ評価の定式化には至って

---

認することの手続き的成本や、患者団体への関連が濃いセッションの比率に不相当ほど患者代表者の参加者があってしまうことの正負の影響など、考慮し得る要素はいくつかあろう。一般論としては透明性が高まることが望ましいとは言え、照らし合わせるべき会議の目的が奈辺にあるのかで設定は変わるであろうと考えられる。

<sup>36</sup> See *supra* footnote 30.

いないとのことではあったが)より効果的な患者関与のあり方を目指しての工夫を続けているとのことであった。他方で、既存の枠組みには柔軟性があり、用途に応じた汎用が可能である、とも述べていた。

##### ②PPIP 組織の確立

患者のサポート役を担う PPIP の組織を確立できたことも、これまでの成果として挙げられた。この組織は、患者サポートに専従の専門組織として機能している。サポートの内容としても、情報提供はもとより、ガイドライン作成チームに加わるタイミングでのそれを含めた患者・市民メンバーへのトレーニングの提供や、作成チーム内での作業時のサポートも含めた、全工程に関わる幅広い内容となっている。

また、患者・市民関与の一環として、議論のファシリテーターとしての作業グループの長のトレーニングも支援している。

##### ③患者・市民関与の枠組み・ノウハウの確立

患者関与のあるべき姿としてノウハウを確立してきたことも達成成果のひとつとして挙げられていた。ガイドライン作成チームなど、どのグループにも、最低限2人の非専門家(患者や市民)が入る原則(“at least 2” principle)の確立がひとつである。2人以上が議論の輪の中にあることで、1人であれば発言を行いきにくいところが発言しやすくなったり、一方が何か困難に直面した折に他方と相談できたり、といったようなメリットが経験的に見られる。また、全ての非専門家メンバーに対する、職業的関与への対価としての報酬の支払いも確立

している<sup>37</sup>。

また、市民諮問委員会（Citizens Council）の設立<sup>38</sup>による、社会からの見解の導入も、達成された成果として挙げられていた。また、公衆衛生の枠組みやコミュニティでの医療提供からの観点の取り込みについても成果を見ている、としていた。

加えて、NICE は、発行するガイダンスの非専門家バージョン（患者・家族用）の提供にも早くから取り組んでいる。提供される情報には、さらなるサポートの提供元の情報についても含まれている。

### ③関与する患者団体の範囲・数の拡大

ステークホルダーたる組織との連携の深化・拡大にも進展が見られている。現在、データベースには 1400 以上の組織が登録されている。かつ、これらの組織が、ガイダンスなど NICE の決定の周知・認知度向上に寄与していることも成果として挙げられていた。

加えて、国際的な展開としても、GIN（Guidelines International Network）<sup>39</sup>や HTAi（Health Technology Assessment International）<sup>40</sup>へも関与している。これ

<sup>37</sup> NICE への関与は、素人によるボランティア活動としての関与を求めているのではなく、あくまでも議論に参加するメンバーの一員としての見解の提供ある、という方針を具体化するとの趣旨に沿ったものである。

<sup>38</sup> 同委員会については、see *supra* footnote 30.

<sup>39</sup> 2002 年発起。39 カ国から、91 のガイドライン設定に関わる組織が加盟している、臨床ガイドライン関係の国際ネットワーク組織。See <http://www.g-i-n.net/>.

<sup>40</sup> 2003 年発足。2003 年に発足の、health technology assessment に関わる団体や企業が加盟する組織。2009 年現在、44 の医療提供者や HTA 機関などの

らの組織では、患者・市民・消費者の関与についての作業グループやフォーカスを当てた活動を持っており、PPIP も積極的に関係を構築している。

### ④ 平等原則の導入・確立

平等性を活動の一環として考慮する義務の実現を図っている。例えば、ガイドライン作成メンバーに対するトレーニングのプログラムにも、“Social Value Judgments” についてのセッションが含まれている。他にも、年に 1 回開催される平等性についてのフォーラムも含まれる。

### 2) 達成事項から得られたインパクト

上記のような達成事項から得られたインパクトとして、以下の点を挙げていた。①既存研究への貢献：これには、増強・補強、文脈化、反論いずれの観点からのものも含まれる。②専門家や学問的な前提への反論・挑戦：患者側からの観点の提供により、専門家のみでは前提とされていたものへの疑義が提供できることになったこと。③プロセス、手法、アウトカムいずれの面でも、患者や介護者が中心となる観点を担保することにつながったこと、および、患者や市民にとっての重要性・関連度合いについての提案が可能となったこと。④臨床上の意思決定における **shared decision making** の推進。⑤各種 NICE 施策・ガイダンスの実施に際しての浸透チャネルの強化・拡大。⑥一連のプロセスに関与した個人への影響：特に、さらなる学習や就学への動機と

公的機関と、12 の製薬・医療機器メーカーが加盟している。See <http://www.htai.org/>.

なったことや、臨床家の抱える役割の複雑性についてのより深い認知。

### 3) 将来的展望

#### ①関与の継続

患者・市民との関与を継続するにあたっては、関与の手法およびプロセスは継続的に改良されるべきものであるとともに、医療環境の変化に応じて適応できる柔軟性も他方で持つべきである、と述べる。そして、患者団体や市民団体とのより緊密なパートナーシップを結んでいくことの方向性として挙げられている。こうしたパートナーシップ構築の上では、患者・市民のコンサルテーションや参加のプロセスに資するような good practice の集積や、地域内でも全国的にも実施関連活動のより広範な宣伝活動、一般・個別いずれのプロジェクトにおける協働、NICE の活動の戦略的構築を可能にするような戦略面でのインプット、などが期待され、また必要とされている。

#### ②関与の手法・効果の実証

これまで導入されてきた患者・市民の関与手法を裏付けるエビデンスの確立が待たれる。実態として非専門家の参加は徹底できているが、ガイドライン作成過程への患者・市民の関与によって得られた差異、つまり換言すれば、患者・市民委員の参加によって得られたガイドライン中身への影響の特定は、課題として残っている。参加の実効性や参加から得られる付加価値について、手段・プロセスごとの評価そしてエビデンスの蓄積が求められている。また、例えば子どもや青少年、あるいは学習上もし

くはコミュニケーション上の問題があるような、議論のテーブルに直接着いていない人物・集団との関与のための戦略づくりも待たれる。

また、エビデンスの採用の上でも、非専門家の見解・経験を取り込むことを可能にする手法の開発が必要となっている。

#### ③関与時の教育プログラム

非専門化の意思決定関与に際して提供されるトレーニングや情報ソースが、より合目的に整備されるとともに、より汎用的なものも別途用意されることが望ましい。

#### ④非専門家用ガイドランスの作成・頒布

非専門家用のガイドランスの作成は課題であるとともに、非専門家用にすでに提供してあるガイドラインなど資料については、より認知度を高めることも課題となる。この観点では、NHS Choices や NHS Information Perspectives といった、NHS 内の情報提供に特化した他プロジェクトとの協力も重要となる。

また、より形式化された患者のための decision aid の作成も模索している。

#### ⑤学術的プレゼンス・妥当性の確立

従前は不足しがちであった学術的な評価を得ることを視野に入れ、さらなる論文の出版も行っていく、としていた。

### D. 考察と E. 結論

#### (1) 日本へのインプリケーション

日本とイングランド（や英連邦一般）では、社会的背景が異なることは言を俟たない。需要者側要因としても、極めて活発な

患者団体の活動の存在や、自己決定権や患者の自主性に対する意識が極めて高いこと、さらにはそれらの背景に通底している各種の社会・文化的要因など、所与の条件が異なる。提供体制の側の要因としても、財政的・マクロ的な支出抑制圧力と、より広範な医療提供を求める個々の患者・疾患のミクロ的な支出促進圧力との間の葛藤も、ダイナミズムの背景要因として挙げ得よう。さらには、90年代初頭より、時の保守党政権によって進められた分権化の一環として、地元の当事者の見解の反映が謳われるなど、直接的な関与を可能にするポリティカルな道が開かれてきたことも、日英で大きく異なる点と言える。他方で、こうして PCT・Foundation Trust への権限委譲など各種施策により分権化が進んでいるとは言え、なお全国一律な制度として、少なくとも日本よりは統制を取りやすいであろうと考えられる NHS ゆえ、各種施策の実施が容易となっている側面もあると推察される。ゆえに、安易に日本への教訓を引き出すことは避けるべきところかとも愚考するが、以下、考えられる日本への教訓を数点挙げる。

## (2) 患者参加へのコミットメント

患者・市民を関与させる回路を構築する、という強いコミットメントの裏打ちが、現実的障壁をも乗り越えている点は、見習うことが可能な点に数えられるかもしれない。関与から得られる効果を実証するためのコミットメントも強いが、それ以上に、実証を待たないままの制度の構築・運用が先行している。

NICE における患者・市民の関与については、手法の上での批判から、関与の是非

そのものに及ぶ否定的な見解まで、様々な議論がある。そもそもの動機として、扱っている 이슈の性格上、NICE は市民・患者からの批判（さらには非難）は避けられず、こうした批判に対応するための消極的な弥縫策であると断じることも可能かもしれない。結果の評価の上でも、NICE からの参加者ら自身が認める通り、関与の効果の実証にはまだまだ努力が必要とのことである。

しかし、ガイドライン策定過程における NICE での経験としても実証と運用とは鶏と卵である以上<sup>41</sup>、(既に引用した Kennedy Report の一節<sup>42</sup>を引くまでもなく) 片方がないことを理由にもう片方に取り組まない道を選ぶのか、双輪とも不完全であることを承知で回していく道を選ぶのかは、コミットメントの次元の問題と言えよう。

確かに日本では患者団体の組織力が英国ほどではないことは大いに考えられるが、英国でさえ、患者団体が専門家（個人・組織）に比べて必ずしも同等の交渉力を持っていないことを前提に、その非対象性を可能な限り打ち消すべく態勢構築を行っている。日本でも同様の取り組みを考える場合、参考にできる点はあると考えられる。

## (3) 専従組織の確立

患者や市民の関与を推進し支持する目的で、NICE は初期より専属のユニットを組織している。この患者参加専従ユニットが

<sup>41</sup> 例えば米国の AIDS の患者団体・組織の熟成に、度重なる当局との折衝（ないしは衝突）が大きく寄与していた事例なども、スケールの若干異なるとは言え、類似の現象と言えるかもしれない。

<sup>42</sup> See *supra* II.A.ii.



主体またはノードとなり、患者・市民参加の施策を推進している。推進主体の明確化により、ポリティカルなコミットメントの旗頭となるとともに、実務上もノウハウの蓄積も着実に進んでいる。こうした組織的な裏づけがあり、患者・市民参加の枠組みを考える上で先駆的となる原則を実施に移しながら、NICEは今に至っている。

しかし、そのNICEでさえも、所与のものとして患者・市民参加をマニフェストとする部隊を持っていたわけではない。むしろ、経験を重ねながら徐々に内部化していった、というのが実情である。現在NICEの中で患者支援機能を担っているのは、PPIPである。この組織的淵源は、Patient Involvement Unit (PIU) という College of Health<sup>43</sup>内に設立された組織であり、2001年4月にNICEの資金拠出の下、ガイドライン作成に関わる National Collaborating Centres をサポートする目的で活動を開始したのが経緯である。これが2003年10月に組織的にもNICEへ移管され、改称されたものが現在のPPIPである。

日本では、各種委員会に患者や市民側代表を選出する際に、明示的な条件もプロセスも基本的にはないため、発展的に改組すればすぐさま患者参加に関与できるノードたりえる組織はないかもしれないが、特に患者側の関心が高く活動が活発な一部の疾患に関わる患者組織・家族会であったり、

あるいは最近とみに騒がれるようになってきた医療崩壊に対応して動き始めている市民組織など、助力を仰げる、あるいは参考にできる組織もあろうか、とも愚察する次第である<sup>44</sup>。

同時に、学習が国際的であることを考えると、PPIP自身も成果として掲げている通り、国際ネットワークを張ることも重要な活動のひとつであろうと考えられる。特に患者・市民参加という側面から、PPIPのカウンターパートたりえる組織が日本にあることが、本来であれば理想であろうと言えようか。

#### (4) 臨床試験・治験の、ニーズとのマッチング

英国でさえ治験参加者数を巡ってその有限性に悩むところ、より治験の少ない日本では、なおのこと、治験のアウトプットの意味を最大化できるような取り組みがあつてしかるべきかもしれない。臨床試験の過半が製薬企業をはじめとした民間企業によって担われていることを考えると、調整の余地は限られているという批判もあり得る。他方で、JCOGなど日本の臨床試験のフィールドで行政の関与のあるものについては、一定程度明示的に行っているものと見られる。そもそもDUETsのような、答えを見出すべき課題の列挙を並行（理想的には先行）して行う必要もあろう。

課題の特定にあたっては、患者側の見解が反映される経路があれば、より患者ニー

<sup>43</sup> 1983年11月設立の非営利組織。医療において個人がより積極的なパートナーとして認識と責任を持つことに寄与することを目的に発足。NHSにおいて患者の権利・関心を推進するために、情報提供など各種活動を行っている。Rigge M. 'Healthline': a new service from the College of Health. Health Libraries Review 1986;3:1-10 ほか参照。

<sup>44</sup> このような文脈で日本国内の事例があるとすれば、腎移植コーディネーター組織がそのまま全臓器の移植コーディネーター組織に発展的改称を遂げた例となるだろうか。

ズに呼応したテーマ設定が可能になると考えられる。NHS Research への市民参加など、既に各方面で患者・市民の直接的な意思決定への参加の経験がある NHS・NICE のようにスムーズには事は運ばないものと予想されるが、前述の通り、この点も進展が期待される分野だと考えられる。

また、未解決課題の特定は、臨床試験のニーズおよびリクルーティングにも貢献し得る、相乗効果のある取り組みであろうと考えられる。特に癌など、重症度が高い一方で治療法の進歩が早い疾患を抱える患者さん方の意見として、治験の機会についての情報がアクセシブルであってほしい、という要望が強い<sup>45</sup>。こうした治験機会の特定こそ、まさに現在取り組み中の課題であり、課題自体の整理はこうした情報の整理に一役買うはずである。

さらには、患者側の認知も高まれば、欧米諸国に比べて遅い新薬の浸透を早めることにも貢献するかもしれない。

#### (5) エビデンスのブリッジング

欧米で収集された治験データを日本の承認申請で利用する際のブリッジングについては議論が行われているが、それと同等の要領で、外国のケア関連のエビデンスを日本の環境に対応させて効率よくブリッジできる可能性はないだろうか。理論的には比較的低いコストで導入を考えられる経路はふたつある。ひとつは、ボトムアップな経路であり、承認時に提出するブリッジングスタディーの何らかの形での援用である。いまひとつは、トップダウンな経路と言えなくもないが、現在各所で進行しているエ

ビデンスのデータベース作りの成果として、データの量と粒度が十分量に至った折に、これを利用した差異の分析である。

すでに QALY 指標などの民族間・集団間差異の研究も行われているが、臨床的慣行の差異、環境の差異、制度や既収載オプションの差異、文化の差異など、ブリッジングを考える上では代表的な要素は挙げることはできるだろう。

特に、イノベーションも含めた社会的効果をも勘案することになれば、算定がますます社会文脈に依存してくる。全ての要素を外科的に切除することは無理だとしても、こうした要素がどの程度勘案されるべきか、どの程度の差異をもたらすのか、についてある程度の尺を持てれば、海外のスタディーの参照の際に役に立つであろうと考えられる。

#### (6) 補論：各セッション報告

以下では患者・市民の関与と間接的な関係を有するセッションについて若干ながら補記する。これらは、情報インフラ関係のセッション (NHS Evidence および NHS Choices)、およびイノベーションによってもたらされる社会的便益について言及のあったセッションである<sup>46</sup>。

##### 1) NHS Evidence

---

<sup>46</sup> なお、並行して複数のセッションが開催されていた上に、一部のセッションについてはすでに定員に達しており、いわば「テーマ性が高い」セッションであったにも関わらず参加できていないものがあることをご了承いただきたい。

---

<sup>45</sup> 昨年度研究班報告書を参照。

## ①概要

NHS Evidence<sup>47</sup>のCOO、Gillian Lengにより、NHS Evidenceについての紹介が行われた。これは、臨床医向けのエビデンスのソースとして考案され、サーチエンジン・ポータルとして機能している。NICEによって提供され、2009年4月30日にスタートしたものである。

着眼点としては、Evidence-basedであること、処理の容量と処理しやすい仕様を備えること、医療の質の向上への貢献、および臨床現場での実用性・影響力を掲げている。

## ②仕様および使用実態

仕様としては基本的にサーチエンジンとなっており、一般的に見られる検索機能のほか、トピックごとの閲覧、ニュースなどのヘッドラインの参照などを取り込んでいる。これら諸機能について、個人の利用の好み・実態に合わせた設定の個別化も可能である。利用頻度としては、現在、1ヶ月あたり120万検索を数えている。このうち2割が英国以外からとなっており、米国が多数を占めるほか、オーストラリア、カナダ、アイルランド、インドと英語圏が続いている。

インターフェースの向上に取り組んでいるが、その一環として、iPhoneなどの携帯端末や、他のウェブサイトの一部に窓として登場するような widget 機能などを通して、さらなる利便性の向上も視野に入れていることが報告された。

検索頻度としては、上位5語(2009年4月スタート以降)となっているのが、1位：

糖尿病、2位：COPD、3位：うつ病、4位：喘息、5位：脳卒中、となっている。ただし、発足時にはインフルエンザが1位となっていたのは、当時豚インフルエンザが既に世界蔓延の気配を見せていたことに対応している。

こうした検索の傾向も含め、個々のユーザーの使用実態をトラックしており、そうしたデータを、サイトの内容やインターフェースの拡充・向上に反映させている。単に情報の提供にとどまらず、直接・間接にインタラクティブな設計になっているという点では、いわば「Web 2.0」のトレンドに則った構築が行われている、と評価できよう。

## ③内容

エビデンスに基づいた情報提供との志向を反映する取り組みの一環として、NICE Evidence Accreditation Teamによる、エビデンスの認証を行っている。認証を受けた情報は、NICE設定の涙型マークとともに表示されることとなる。定義は、現時点では「systematically developed statements to guide decisions about appropriate health and social care to improve individual and population health and wellbeing」とされている<sup>48</sup>。

この他、特徴的な取り組みとしては、DUETs (Uncertainties about the Effects of Treatments) という、効果についてエビデンスが確立していない治療法についてのデータベースも運用している。現時点です

<sup>48</sup>

<http://www.evidence.nhs.uk/Accreditation/Pages/Accreditation.aspx>

<sup>47</sup> See <http://www.evidence.nhs.uk/>.

で1600以上の治療について蓄積されており、提起者による分類も明示化されている<sup>49</sup>。

## 2) NHS Choices – evidence based information for the public

NHS Choices<sup>50</sup>で戦略を担当している保健省のDavid Gannによる報告であった。このNHS Choicesもまたポータルであり、患者にとっての「NHSの旅行ガイド」となることを目指して設計している、とその趣旨を表現していた。提供される情報により、十分な根拠をもった判断を患者が行えることが期待されている。

幅広い機能を備えており、コンテンツとしては、臨床指標やサービス指標、さらには言語能力も含む病院・GPの点数表（「いわば通信簿」）、日ごろの生活習慣についてのアドバイスも含む各種疾患に関する情報、さらにはコメントや議論のための掲示板なども備えている。1ヶ月あたり700万～1200万の来訪者があり、うち80%が検索機能の利用からなっている。コメントについても、先月1ヶ月で4000あったそうである。

機能面では、各種の臨床家を介した情報の提供はもちろん、直接患者に届くチャネルの開拓・構築に意を払っているとのことである。構想には、パソコンや携帯電話のほかに、NHS Choices用のタッチスクリーン情報端末の設置や、デジタルテレビの情

<sup>49</sup> これらは、患者による提起、介護者による提起、医療従事者による提起、研究が推奨される課題、現在進行中の研究、となっている。

<sup>50</sup> See <http://www.nhs.uk/Pages/HomePage.aspx>.

報機能利用なども含まれている。使用法についても、オンラインのトレーニングのソフトウェアも提供している。メッセージの効果についても、パイロットプロジェクトなどを行っている。

一括した情報の提供により、医療提供者のおのおのが情報を提供する重複を避けることによるコストの軽減も図れると述べていた。他方で、類似の政府内・NHS内の機能・サービスとの重複、特にNHS Evidenceとの重複については、その回避も課題として認識している、とのことであった。

### ①Office for Life Sciences Blueprint

2009年1月に、Office for Life Sciencesが省庁横断的に設置され、英国の生命科学産業の振興を図るべく、『Life Sciences Blueprint』が公表された。ここで提示された産業像について、今般の総会のテーマであるイノベーションとも関連させながら、外資系製薬メーカーの社長、およびOffice of Health Economicsの研究者が、それぞれの立場から見解を披瀝し、英国製薬産業会(ABPI)の会長の司会でセッションが進行した<sup>51</sup>。

<sup>51</sup> ABPI会長Richard Barkerからは、別セッションで、NICEの懸念に対して製薬企業側が既に取りつつある対処についての論及もあった。特に、医薬品の提供を促す措置の具体例として、(a)単純な割引、(b)リベート、(c)処方量の上限定（ある一定量の処方を超えた分については、対価を求めないという契約；ここでは、Lucentis（老人性黄斑変性症の治療薬）に対して設定されたスキームを事例として挙げている）、あるいは(d)治療結果連動型価格、などを挙げている。他方で、NICEの現状の中で変化があるべき箇所として、QALYのみに依拠した意思決定からの脱却、広範な便益の一貫性・透明性のある算入、意思決定プロセスについての明確な開示、イノベーションの連続性・蓄積性・

なお、Office for Life Sciences は、生命科学に関する政府内の各種取り組みを調整するために新設された独立部局であり、政府全体として生命科学セクターをどう見るか、という見解の意見交換と統一化を図るという独特な観点から産業を見ている。そして、今般の青写真は、英国の将来にとって生命科学産業は極めて重要であるとの認識の下、1) イノベーション推進体としての NHS、2) より統合された生命科学産業の構築、3) 資金へのアクセス確保および投資の刺激、4) 英国生命科学産業のマーケティング、の4つが主な論点となっている。

こうした Office のこの提言や活動から、NHS Life Sciences Innovation Delivery Board の活動なども具体化している。

## ②Nick Burgin: 英国エーザイ Managing Director

企業の立場からは、個々の NICE の判断を個別に論じることよりも、一国全体として投資に適した土地であるかどうかという観点から、パッケージとして論じられる必要性に言及していた。こうした企業側の実情に照らし合わせて、英国の平均薬価が、欧州各国（および米国）と比較して最低水準に短期間のうちに下がったという事実について熟慮する必要も論じていた。特に、英国エーザイの社長として Nick Burgin は、英国製薬業の空洞化に対する懸念について触れていた。同時に、ここ数年で、大量に処方されている医薬品の数々の特許が失効

---

重要性の認知、データの不確実性についてのより現実的な対処、を求めている。そして、QALY に上乘せられるべき評価尺度として、社会的・科学的価値、患者・介護者要因、疾病の重症度、およびイノベーションの程度を挙げた。

することを踏まえれば、その差分でイノベーションへの資金拠出は可能であるとも述べていた。そして、これまでの経緯を踏まえれば、医薬品産業は投資に見合ったリターンをもたらしており、手術に代わって内服薬による対処が可能になった胃潰瘍などの事例を引き合いに出し、費用削減への貢献も指摘していた。加えて、Blueprint の中で提案されている「Innovation Pass」という新しいスキーム（次項参照）は、イノベーションに親和的なものとして可能性があるとも言及していた。

NHS と ABPI の間での協力についての枠組み合意が見られたことはひとつの前進であるとして Burgin は評価していた。また、具体的にも、製薬企業、NHS、医療提供者の間には、互恵的な協力関係を構築する余地がある、と述べ、その例として、NHS Salford・GSK の間の COPD についての協力関係について挙げている。これは、NHS の掲げる 4 つの取り組み尺度「QIPP（Quality, Innovation, Productivity and Prevention）」への貢献という意味で患者にとっても、技量の獲得や資源配分の合理化のできる NHS Salford にとっても、そして治療法の最適化を実現できる GSK にとっても、win-win-win の関係である、と評していた。

## ③Adrian Towse: Director, Office of Health Economics

新製品によってもたらされる患者個人および社会への「価値」には広範なものが含まれるが、定義の重要性 Kennedy 報告を受けて、NICE が評価に含むべき要素として何を挙げるべきかが問われる、との問題

提起の下、同報告の要点について概観した。その上で、具体的手法として、NICE が採りうる収載判断上の手法・工夫について論じている<sup>52</sup>。

課題としては、イノベーションの認知・認定、算入される要素間の衡量、イノベーションの漸進性の評価、を挙げていた。

NICE には、既に運用されている Patient Access Scheme での条件設定により、柔軟な上市を認めている。これには、償還総額の上限設定、価格割引、サブグループごとに異なる償還、結果に連動した償還、といったがある。これとは別に、新たに、NICE の評価を一次延期する効果を持つ手法として「Innovation Pass」があり得る、と全体像を描いた。

そして、OLS の Blueprint が提案しているこの「Innovation Pass」は、米国 Medicare の「Coverage with Evidence Development」の UK 版と捉えることができる、とも指摘した。この取り組みは、対象とされ得る条件として、患者数の少ない疾病で、上市時に NICE のエビデンス条件を満たすに十分な情報がなく、しかし大幅な便益が期待されるもの、とされている。この他、進行している疾患については別途勘案されることとなっている。NICE の査定を待たずに NHS に収載・提供される一方、NICE の査定まで最大 3 年間の猶予が

<sup>52</sup> ただし、「NICE は、新薬の収載可否の判断に際して、産業政策的観点から、製薬産業の育成に関連する尺度を勘案に加えるべきか」という問いに対して、セッション中に挙手によって簡易的に行われたサーベーターでは、セッション参加者のうち約半数程度を占めていた医師・看護師の大多数が反対を示していた。(これに対して参加者のおよそ 1/4 を占めていた製薬産業出身の面々のうちの過半数は賛成であった。)

与えられ、その間の研究計画、および提供価格については保健省との合意に基づく。

1 製品あたり最大 800 万ポンド (約 12 億円)、総額 2500 万ポンド (約 38 億円) の予算が付与される予定のスキームである。

手法と並行して、イノベーションの経路依存性をどう捉えるかは課題であることにも言及している。製薬業界に特に強く見られる外部性や、不確実だが便益をもたらすかもしれない技術に対して社会が支払い意思を持つ可能性の評価、こうした課題に対処するための政策上の手段、などは残る研究課題である、と締めくくっている。

### 3 ) International perspectives on innovation and value

「International」との題ではあっても、欧州流に、大西洋をまたいだ米欧比較論に限られてはいたが、両大西洋岸の差異がより際立つようなタイミングでの議論に、会場はにぎわっていた。これは、元来ある医療制度に対する認識やイノベーションに対する感覚の違いもさることながら、ちょうど議論の俎上に上っていた米国医療改革法をめぐる議論の「活況」のためである。この活況は、法案に含まれていた「終末期医療コンサルテーションの Medicare 収載」が Sarah Palin<sup>53</sup>によって「death panel」と批判されたことを極端な例として、米国では comparative effectiveness research (CER) や新設される Patient Centered

<sup>53</sup> 元アラスカ州知事。2008 年大統領選挙の共和党候補 John McCain により副大統領候補に指名されて以降、米国保守層に全米的な人気を誇る一方、その言動の不安定さは、コメディ番組によるパロディーの的となった。

## Outcomes Research Institute (PCORI)

など、言わば「NICE 的な」機能・組織を、患者が医療を受ける権利を阻害するものであるとの批判が巻き起こり、争点のひとつとなっていたことによるものである。こうした論争に対しては、NICE の側の関係者も関心（と笑い）をもっており、これを踏まえた議論となっていた<sup>54</sup>。

### ①Steve Pearson: President, Institute for Clinical and Economic Review

#### 1) イノベーションと CER との関係

イノベーションを CER のプロセスの中で判断する上では、判断の主体と手段とともに、CER がイノベーションを阻害する懸念が大きな問題となる。阻害要因としては、費用はもちろん時間をも含む CER に伴う費用や、要求されるデータの質というハードル、および、医療機器、外科処置・手技、提供体制など漸進的な進歩を見せるものの査定の困難、といった点が挙げられる。

理想的には、CER が目指すべきは、メーカーにとって正のインセンティブとなるような CER 制度の設計であり、また、揺籃期の処置を殺さない感度の達成である。

<sup>54</sup> また、発表内容そのものには含まれなかったが、質疑応答の中でも確認されたこととして、米国での基本的な認識は「イノベーションは自然発生的に生ずるものである」ということである。つまり、逆に「イノベーションを促進する」といった恣意的な介入の対象になり得るとは考えられていない、ということである。よって、NICE によって「イノベーション促進的な措置」を採ることが考えられていること自体に、米国の人の多くは違和感を持つであろう、という米国側の感覚が主なメッセージのひとつとなっていた。

#### 2) イノベーションの査定軸

査定を行う上での評価軸を考える上では、事前に明示可能なのか、それともやはり事後的な結果査定は不可避なのか、が問題となる。事前の査定軸の例としてはまず製品や製造者側の要因が考えられ、具体的には、当該製品の機構・作用メカニズム、想定される開発サイクル（および、それに伴う臨床的効果の変遷）、そして費用を挙げていた。それ以外にも、対象とする患者群のその状態、利用可能（受容可能）な治療手段が現存するか、提供可能性・便益を受ける可能性のある患者が増えるか否か、といった患者側・医療環境側の要因も挙げていた。

逆に、事後的査定軸を考える上では、そもそも結果が「成功」とみなされる条件は何か、という問いへの答えが必要であることを指摘している。加えて、手法上も、エビデンス生成を条件とした収載の採用・運用や、さらにそれに呼応した価格設定もあり得るとしている。他方で、査定時に承認（最終および暫定）の条件を満たさなかった製品についての以後の再申請を含めた取り扱いについても、適切な考慮が必要であるとも指摘している。技術開発（さらにはユーザー側の熟練や社会的インフラの整備）が漸進的性格を持つという前提がある以上、全うであるにも関わらず見逃されかねない着眼点と言えよう。

#### 3) CER がイノベーションに与える影響

「イノベーション評価制度・プロセスがイノベーションに与える影響をどのように測定するのか」という問いへの答えが必要となってくるとした上で、測定の可能性がある影響をいくつか挙げている。投資や労

働者の分配、新規技術の市場への浸透、新規の（競合的な）適応症の数、異なる作用機序の数、従前は治療法がなかった疾患に対する治療法の登場、がその例示である。投資の分配への影響とは、ハードルが高くなることによってベンチャーキャピタルによる回避が起こる可能性であり、平易な事例として挙げているのは「承認されるか分からない高度治療より、市場的ニーズの確実でハードルが相対的に低い毛髪育成の技術に資金が回る可能性」である、ということである。

同様の観点から、英国では、NICE が与えるイノベーションの影響をどう測るのか、という問いの立て方がある、としている。

#### 4) 米英連携の可能性

最後に、米英で協力できる可能性についても触れた。イノベーションの可能性の有無の判断基準の統一化、エビデンス生成に係る指針の作成、エビデンス収集を条件とした掲載時のレジストリーデータの共有、である。エビデンス生成に係る指針は、米英共通のものとして、評価軸との整合性の担保に貢献することが期待されている。

①Sean Tunis: Director, Center for Medical Technology Policy, Baltimore

#### 1) Medicare の償還範囲をめぐる経験

演者は、過去に Medicare の償還範囲の意思決定に関わっていた経験についてまず述べた。

償還範囲を形作る法的根拠は、実は

「reasonable and necessary」という文言<sup>55</sup>（社会保険法（1965年）第1862条(a)(1)(A)）しか存在していない。これを明確化する試みも、多くの批判に遭ったことで陽の目を見ることがなかった。ゆえに、運用のための事実上の定義によって償還範囲は定義づけられてきた、と述べた。この定義は、当該処置が「健康上のアウトカムを改善し」、「Medicare 対象者に一般化が可能であり」、かつ「既記載の代替手段と同等もしくはそれよりよい」というものである<sup>56</sup>。

#### 2) 「エビデンスの逆説」

上記のような状況もあり、やはりエビデンスの勘案を求められる。ところが、ここで課題として認識されるべきは、RCT の数に比して確定的・実用的なエビデンスが僅少に留まることである。18000件/年以上の RCT (randomized controlled trials) に加えて、多くの非試験的研究も含めて、多数の試験・研究が行われているにも関わらず、エビデンスの蓄積への貢献は小さい。結果、システマチックレビューの制約要因として、エビデンスの数の限定や研究の品質の悪さが常々挙げられて今に至っている。

#### 3) 「不確実性の分子生物学的メカニズム」 エビデンスが採用されない社会的要因と

<sup>55</sup> しかも、この文言はもともとある民間保険会社の約款にあった条項を転用したものであることが、後の当事者のインタビューで判明したとのことである。

<sup>56</sup> 費用の観点からの枠組みの設定はさらに曖昧となっており、あくまでも「エビデンスを注意深く見ている」という水準にとどまっている、とのことである。



して、以下の要因を図示する、模式的・細胞生理学的なスライドを示した：(a) 科学的エビデンスの世界と政策・意思決定の世界との間に乖離があること、(b) HTA は意思決定への採用に促進的であるにも関わらず、意思決定権者はなお (HTA によって示される) エビデンスに対して「低親和性」しか持たないこと、(c) エビデンスのギャップが特定されるものの、それを政策・意思決定の世界から科学の世界にフィードバックするメカニズムに毀損があること、(d) 結果として、政策・意思決定権者に「親和性」の低い科学者の、内発的な知的好奇心が基本的な研究の方向付け要因となっていること。

#### 4) エビデンス生成指針

Pearson 同様、Tunis もまた、意味のある、効果的なエビデンス生成のためには、エビデンス生成にあたっての指針があることが望ましいとの指摘をした。この指針が備えるべき性格として、(A) 患者・臨床家・支払い者のそれぞれ需要するエビデンスの条件の明示、(B) FDA ガイダンスと同様の位置づけ、(C) 製品開発者・研究者を対象とした(i)意思決定に適合・十分で、かつ、および(ii)健康上のアウトカムの改善を「合理的に信じられる」水準で示せる、ような臨床試験の推奨デザイン、を挙げている。この作成にあたっては、内容としては、システマチックレビュー・HTA からの知見を元にすべきこと、手続きとしては多数のステークホルダーの関与する諮問グループによる、漸進的な作成、を提案していた。また、NICE にあっては、NICE の科学的アドバイスと整合的であることも条件となる

う、と指摘していた。

#### F. 研究発表

1. 論文発表  
なし
2. 学会発表  
なし

#### G. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

1. 特許取得  
なし
2. 実用新案登録  
なし
3. その他  
なし

