

# 「神経免疫分野の医療経済状況 2019」

班員 荻野美恵子<sup>1)</sup>

## 研究要旨

ここ数年これまで以上に高額な新規薬剤が次々に薬価収載されている。今後、日本においてもこれまで以上に有限な医療資源の有効活用を考えなければならない。神経難病でどのような状況で高額な薬価がつけられているのかを概観するとともに神経免疫分野の現状を把握し、これら高額薬品に対して、国内外でどのような対策が検討されているかについて検索した。費用対効果の考え方はすでに日本の薬価制度にも実装しているが、さらに効果により支払いを変動させる制度や分割払い制度、ファンドの設立など国民皆保険を維持しつつ、平等に一定レベルの医療が受けられる状況をどのように作り出すかが問われている。専門家の立場としても適正使用ガイドの作成など、エビデンスに基づいた更なる研究が必要である。

## 研究背景

日本経済の高成長は望めないなか、医療経済的にも制限があるが、近年高額な抗体医薬品が相次いで開発され一人の治療に年間数千万円かかる状況である。神経免疫治療においても、多発性硬化症に対するオクレリズマブ、NMO にサトラリズマブのように次々と高額薬品が開発されている。このような高額薬品に対してどのように医療経済的に対応すればよいかについては、国内外で検討されており、費用対効果を評価指標とすることが検討されている。

## 研究目的

近年難病に対する高額治療薬が次々に上市されている。医療費が限られるなかで、どのように対処すべきかを検討する

## 研究方法

神経難病に関する近年上市された治療薬の価格の状況を確認し、高額医療に対して様々な国がどのように対応しているかについて、各国政府が報告しているホームページや様々な文献検索から現状をまとめ、日本における対応について考察する。

(倫理面への配慮)本研究は公表されている統計データ等を用いるため、要配慮個人情報とは扱わず、人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の適応外である。

<sup>1)</sup> 国際医療福祉大学医学部医学教育統括センター

## 研究結果

### 1) 医療費における医薬品について

医薬品は総医療費の約 2 割を占め、高齢化の進展、技術革新、オーファンドラッグの開発(2018 年度 FDA 承認医薬品の半数以上がオーファン指定医薬品)により増加率が問題となっている。対策として、薬価制度の見直し、最適使用推進ガイドラインの運用。後発品の使用促進が行われている。

### 2) 難病領域の高額医薬品について

ここ数年の難病領域の治療について、高額治療薬について検索した。脊髄性筋萎縮症では画期的なアンチセンス核酸医薬ヌシネルセンナトリウム(商品名スピラザ)が米国では 2016 年 12 月(1 瓶 1620 万円)、欧州では 17 年 5 月(ドイツ 1297 万円)、日本では昨年 7 月承認(932 万 424 円/瓶、投与初年度 5592 万円、初年度以降は 2796 万円)された。本薬剤は 4 ヶ月に 1 回髄腔内投与を継続することが必要で、脊髄変形の強い患者への投与はしばしば困難があるが、2017 年米国にて、単回の静脈注射で有効となる AVXS-101(商品名ゾルゲンスマ)が開発された。NEJM に報告された結果では同薬を投与した 15 例全例で生後 20 か月までイベントフリーで生存しており、12 例の高容量投与群の内 10 例が支えなしで 10 秒以上座ることができるようになり、2 例は歩行も可能という高い有効性を示した。米国では 2019 年 5 月 24 日に承認をうけ、欧州・日本(2018 年 11 月先駆け審査指定制度指定品目)でも申請中である。ゾルゲンスマは米国にて世界最高の 212 万 5000 ドル(約 2 億 3000 万円)という価格が設定された。1 回の投与で一生の効果期待できるためスピラザ 5 年分と同じ

薬価でも、そのほうが費用対効果が良いという判断である。さらに、現在経口薬の治療試験が行われており、中間成績でも先行薬同様に有効性を示すことができ、日本でも2020年の申請が予定されている。発症前の治療試験も行われており、発症を予防できる可能性すら出てきている。

他にも新薬として、トランスサイレチン型家族性アミロイドーシス(hATTRアミロイドーシス)のも核酸医薬 patisiran(商品名オンパットロ)が2019年9月9日国内初のsiRNA核酸医薬として承認され、1瓶98万6097円(一日薬価8万4000円)の薬価となった。

デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象にアンチセンス核酸医薬 viltolarsen(NS-065/NCNP-01)も2015年から先駆け審査指定制度の指定、2019年8月22日には希少疾病用医薬品指定を受け開発中である。

### 3) 神経免疫分野の高額医薬品について

多発性硬化症の分野でも年間数千万円を要するオクレリズマブ、NMOのサトラリズマブなど抗体医薬が今後日本でも使用されるようになる。

特に神経免疫疾患は製薬業界でも大きなターゲットとされており、主要7か国の疾患修飾薬市場は2016年に約210億ドルであったところが2016年には250億ドル以上と予測され年率2%で成長すると見込まれている。

### 4) 高額医薬品対策

このように次々に高額医薬品が承認されるが、一方で保健医療の持続性も目指さなくてはならず、難しいかじ取りとなっている。この問題は各国が直面しているもので、様々な工夫をしている。日本における高額医療対策としては患者に対しては高額療養費制度、指定難病制度があるが、医療経済的対応としては薬価の引き下げ、費用対効果(HTA)評価の利用が行われている。

他国の対策としてはHTAの限界もあり、VBP(value-based pricing)に移行しつつある。効果が患者により大きく異なる薬剤などでは、患者アウトカムに基づいた支払いをする制度(pay for performance)や効果が不確

実な場合に分割払いをする制度などが行われている。また、重点領域に特化したファンドを設立したり、適応拡大時のルール設定などが行われている。

今後AIや再生医療に対してどのように価格を設定していくのか、QOLをどの様に経済分析に組み入れるのか、更なる検討が必要な状況にある。

### 考察

神経免疫分野は分子標的薬を代表として治療効果のある高額医療が次々に開発されている。確かに有効性は高いが、患者個々についてみると、従来の薬剤で同等の効果を得られている場合もある。今後の医療に求められるのは、どの患者にどの治療をどのような優先順位で選択するかという英知である。神経分野における適正使用ガイドの制定が必要となる。また、バイオシミラーやフォーミュラリの使用を含め、国民皆保険において、持続性と同時に何が平等なのか、理念的にも検討していくことが必要なのではないか。またどのようにアルゴリズムを作成しようとも、必ずグレーゾーンを生じる。処方する医師が様々な資源が有限であるという前提で選択を考える素地をもつような教育も必要である。

### 結論

今後ますます高額医療が治療の主流となることが予測され、医療経済分野の問題は山積している。医療者も、国民も医療に対するコスト意識を醸成し、少なくとも我々医療者は、治療アルゴリズムやガイドライン作成においても費用対効果を考慮する必要がある。まずできることから無駄をなくし、真に必要な治療が患者に届くように努力するべきである。

### 健康危険情報

なし

知的財産権の出願・登録状況

特許取得：なし

実用新案登録：なし