

令和 6（2024）年度厚生労働行政推進調査事業費補助金

（政策科学総合研究事業）

分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における

方法論およびツール等の開発に関する研究

令和 6（2024）年度 総括研究報告書

研究代表者 福田 敬

令和 7（2025）年 3 月

目次

統括研究報告書

分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究 福田敬
..... 1-8

分担研究報告書

日本の公的分析における効用値の取扱いの実態と課題 下妻晃二郎
..... 9-19

QALY shortfall の政策利用の動向とわが国への適用可能性 池田俊也
..... 20-27

海外主要国における医療技術評価方法における代替エンドポイントの取り扱いの概要
石田博
..... 28-50

医療技術評価における生成 AI・大規模言語モデル(LLM)の利用可能性 森脇健介
..... 51-61

データベース研究のチェックリスト 赤沢学
..... 62-66

費用対効果評価制度における公的介護費用の取り扱いについて 大寺祥佑、高士直己、
藤澤岬、岩本哲哉
..... 67-70

NDB を用いた治療エピソードの抽出方法について 佐藤大介
..... 71-85

介護者の QOL を費用対効果評価に含める際の諸問題に関する研究 能登真一
..... 86-140

QALY(Quality-adjusted life year:質調整生存年)と障害者差別—医療資源配分の倫理的基盤
に立ち戻って— 齋藤信也

.....141-164

公的介護費用に影響を与える社会経済要因の考察 田倉智之

.....165-168

医療経済評価人材育成についての現状～慶應義塾大学 HTA プログラムを中心に～
後藤励

.....169-173

厚生労働行政推進調査事業費補助金（政策科学総合研究事業’（政策科学推進研究事業））

総括研究報告書

分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究

研究代表者 福田 敬 国立保健医療科学院 保健医療経済評価研究センター センター長

研究要旨

医薬品・医療機器の費用対効果評価については中央社会保険医療協議会（中医協）の議論の結果、令和元年度から制度的に導入された。本研究においては、我が国で実施された費用対効果評価の実例・経験の蓄積、諸外国における分析ガイドラインの動向の調査、最新の学術的な動向、本研究班含めた我が国における最新の研究結果等を踏まえて、ガイドライン改定を実施し、かつそのための費用対効果評価に関する方法論やツールの開発を行うことが目的である。

1年目の研究として、日本でこれまで行われた評価における QOL 測定方法の検討、諸外国における QALY Shortfall や代替エンドポイントの扱いなど、さらに NDB や介護 DB を用いた費用推計の方法、AI の活用、介護者の QOL 等の様々な観点からの検討を行った。これらの検討を踏まえて、2年目の研究において、分析ガイドラインの改定作業を行い、提案する予定である。

研究分担者		教授
赤沢 学	明治薬科大学薬学部 教授	森脇 健介 立命館大学生命科学部 准教授
池田 俊也	国際医療福祉大学医学部 教授	里見 智美 独) 医薬品医療機器総合機構・医療機器品質管理 安全対策部 医療安全情報管理課・課長
石田 博	山口大学大学院医学系研究科 名誉教授	関 護和 独) 医薬品医療機器総合機構・医療機器品質管理 安全対策部 医療安全情報管理課・課長
大寺 祥佑	国立長寿医療研究センター研究所 老年学・社会科学センター 副部長	森田 喬 独) 医薬品医療機器総合機構・医療機器品質管理 安全対策部 医療安全情報管理課・課長
後藤 励	慶應義塾大学大学院経営管理研究科 教授	古元 重和 北海道大学大学院医学研究科 教授
古元 重和	北海道大学大学院医学研究科 教授	齋藤 信也 岡山大学大学院学術研究院 特命教授
齋藤 信也	岡山大学大学院学術研究院 特命教授	研究協力者 岩本 哲哉 国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター 主任研究官
佐藤 大介	藤田医科大学医学部 教授	高士 直己 国立長寿医療研究センター 研究所 老年学・社会科学センター 医療経済研究部
下妻 晃二郎	立命館大学総合科学技術研究機構 教授	藤澤 岬 国立長寿医療研究センター 研究所 老年学・社会科学センター 医療経済研究部
白岩 健	国立保健医療科学院保健医療経済評価研究センター 上席主任研究官	
田倉 智之	東京大学大学院医学系研究科 特任研究員	
能登 真一	新潟医療福祉大学医療技術学部	A. 研究目的

医薬品・医療機器の費用対効果評価については中央社会保険医療協議会(中医協)の議論の結果、令和元年度から制度的に導入された。新規に薬事承認された品目のうち、中医協で定められた選定基準に合致したものについて評価が行われている。2024年1月の段階で50品目が対象品目として指定され、うちH5品目9品目を除くと医薬品37品目、医療機器4品目の計41品目が分析対象となった。費用対効果評価制度においては、品目指定後に、製造販売業者における分析が提出され、その結果を公的分析によりレビュー、再分析が実施されるという流れになっている。

このようなプロセスにおいて、企業側の分析、公的分析ともに費用対効果に関する分析ガイドライン(「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン」)に基づいて分析が実施される。分析ガイドラインは、分析に関する共通手法をまとめたものであり、費用対効果評価に関する最新の学術的な見解に基づいて作成される。これは、費用対効果評価あるいは医療技術評価を政策応用している諸外国においても、同様である。我が国においても2016年の費用対効果評価における試行的導入を実施した際に初版が作成され、以後は2年に一度の診療報酬改定の際に、分析者からのフィードバックや学術的進歩の影響を受けて、定期的に見直されているところである。

本研究においては、我が国で実施された費用対効果評価の実例・経験の蓄積、諸外国における分析ガイドラインの動向の調査、最新の学術的な動向、本研究班含めた我が国における最新の研究結果等を踏まえて、ガイドライン改定を実施し、かつそのための費用対効果評価に関する方法論やツールの開発を行うことが目的である。

本研究において、期待される効果は二つある。一点目は費用対効果評価の政策面への寄与である。製造販売業者と公的分析では立場が異なることなどから、中医協費用対効果評価専門組織等においても、分析手法等をめぐって様々な議論となることがある。学術的な頑健性をもった議論により、我が国の実情に適した分析ガイドラインのさらなる精緻化・明確化が実施できれば、費用対効果評価制度のさらなる発展につながるとともに、異なる

ステークホルダー間のコミュニケーションを促進し、円滑な制度運営にも貢献できることが期待される。本研究班は、公的分析を担う者、あるいは公的な意思決定を担う者を含め、本分野において学術的な影響力のある主要なメンバーを網羅して構成されており、ガイドライン作成の役割を担うにあたって適していると考えられる。二点目は、費用対効果評価分野の学術面への寄与も大きい。費用対効果評価の分析手法等はいまだ発展途上の側面があり、本研究班で実施された学術的側面からの研究成果や開発されたツールは、学術的側面からも我が国における本分野の標準となっているものも多くある。分析ガイドラインの改良、費用対効果評価制度の発展という共通の課題に向けて、研究者が立場や組織の壁を越えて実施する「目的指向的な」研究班のあり方により、我が国における本分野の学術的な議論をリードしていくような研究成果を出すことが期待される。

B. 研究方法

本研究では、以下の観点に基づき分析ガイドラインに関する現状の課題を分析し、Research Question等を抽出する。それに対応した学術的な解決方法の検討・運用等に必要なツールの開発等を行う。

1. 我が国における費用対効果評価の実例

2024年1月時点で、評価対象となったものは50品目となっており、一定の経験が蓄積してきている。公開されている報告書に加えて、関係者からの聞き取りなどを行い、それらの状況をレビューすることにより分析過程、あるいは費用対効果評価専門組織における議論において、学術的に課題となった項目について同定を行う。

2. 諸外国の動向

諸外国の医療技術評価機関においても、分析ガイドラインやそれに付随する文書は常に改定されている。これらの動向について、オンライン情報を中心にデスクトップサーチを行い、系統的に探索を行う。多くの場合、デスクトップサーチにより改定された結果等については把握できるものの、

その背景となる学術的な考え方や制度的な要因など本質的な詳細部分は、不明であることが多い。それらについては、当該医療技術評価機関(The National Institute for Health and Care Excellence など)等に訪問調査を行うことによって、明らかにする。調査対象となる医療技術評価機関については、国際会議や訪問調査を通じて国立保健医療科学院によって、随時コミュニケーションが取られている。同様に分析ガイドラインのみならず、我が国において活用可能な各国で使用されている評価ツール最新情報を収集する。

加えて、費用対効果評価において先行する諸外国について、その制度等に関する状況をモニタリングし、制度改正等の新たな動きがあった場合はその詳細について調査を行う。特に、我が国においては未だ制度的な導入が行われていない高額な医療機器を用いた医療技術等や体外診断用医薬品についての状況、諸外国における公的分析の体制のあり方、人材のキャリアパスなどについては情報収集の対象とする。

3. 我が国における学術的な検討

3-1 方法論に関するもの

ガイドラインで活用されるいくつかの方法論については、以前の研究班においても継続して検討対象としており、そのあり方について調査研究を行っている。本研究班においてもそれらを引き継ぎ、特にアルツハイマー型認知症の評価を実施するにあたって、中医協においても中心的な論点となった「公的介護費用」の取り扱いについては、そのあり方や実際の費用推計方法、例えば公的介護用のデータソースや推計方法についても介護 DB などを活用しながら学術的な検討を行う。その他、中医協においても検討がなされている比較対照技術のあり方や、追加的有用性の検討方法、特にリアルワールドエビデンス(RWE)の活用や間接比較を実施するにあたっての方法論・留意点、QOL 値の測定方法(マッピングやビニエット法など信頼性に課題のある手法を含めて)、不確実性の大きなパラメータの取り扱い、などについて検討を行う。

3-2 評価ツールに関するもの

・ ナショナルデータベース: 費用や患者数割合などの推計において、レセプト情報・特定健診等情報データベース(National Database: NDB)を活用する場面がある。ただし、これらの費用対効果評価の対象となりうる疾患や健康状態について、分析手法が必ずしも統一化されておらず、課題がある。国立保健医療科学院が提供を受け、管理を行っている NDB データあるいは民間のレセプトデータ等を活用することにより a) レセプトデータを用いた健康状態の定義方法、b) 解析にあたっての統計的手法、c) 得られた結果の妥当性の検討方法、d) 透明性を持った分析手法や結果の報告方法等、についての検討を行う。

・ QOL 尺度の開発・データベースの整理: アウトカムのデータの中でも、特に国内では QOL 値のデータの蓄積に乏しく、測定される疾患領域に偏りがあることが課題である。日本における種々の健康状態における QOL 値の調査研究や QOL 質問票の開発を実施することとする。特に諸外国においても開発が進められている、選好に基づく尺度(preference-based measure: PBM)については、FACT 8D などの開発を継続して実施する。QOL 値の収集・開発についてはフィールド調査を実施する予定である。加えて、国内で調査された QOL 値のデータベース化作業を実施しており、WEB 上で公開している。これらデータベースの構築・更新・改良作業について継続して実施する。

・ その他: 費用対効果評価における報告様式やガイドラインを活用するにあたっての人材育成のあり方などについて調査する。アプレイザルについては、制度化以降も、総合的評価や価格調整において配慮する要素について検討を行うこととされており、わが国において ICER(cost/QALY)に加えて考慮すべき要素の検討、医薬品・医療機器等の価値を多面的かつ定量的に測定するための検討を行う。

4. 分析ガイドラインの改定方針の取りまとめ

1-3 の上記の検討作業の後に、研究班員のコンセンサスに基づき、分析ガイドラインに関する改定作業を実施する。抽出された課題や Research Question に対応する学術的な対応方法、あるいは

ツールの開発状況等を鑑みながら、得られた成果を分析ガイドラインの改正に反映させる。

(倫理面への配慮)

本研究は、わが国でのこれまでの公表資料や諸外国の医療経済評価の取り組みを参考に、我が国での費用効果分析の手法及びデータの標準化を検討するものであり、倫理面での問題はないと考えられる。

また、標準的な費用データソースの確立に向けて、レセプトデータベースを扱うが、定められたセキュリティ要件を満たすとともに、取り扱いに向けた体制を整備し、データの扱いには特に留意するものとする。

C. 研究結果及び考察

1. 我が国における費用対効果評価の実例

2019年度から本格的に開始された「費用対効果評価制度」(以下、制度)において、2024年末までに公的分析による結果が公表されている計32品目の分析について、健康効用値(Health-State Utility Values: HSUV)(以下、「効用値」と表記)の取扱いの実態と課題についてまとめた。

効用値の取扱いに限らず、そもそも企業の分析結果が公開されていたのは16/32(50%)であったため、一部は公的分析側の報告書に記載があればそれを参考にまとめてみた。

企業は12/32(37%)の品目における分析で、効用値としてEQ-5Dで測定した結果を使用した。うち日本人を対象とした測定結果を使用した例は2/12(17%)であった。2023年度までの品目では50%であり、2024年度は使用割合が減っていた。残りの10品目のうちの8品目(80%)では、主に日本人ではない対象で測定されたEQ-5Dから得られた回答スコアを、一般日本人の価値観に変換するために開発されたアルゴリズムを用いて算出した効用値が用いられていた。次に、効用値のデータがどうしても得られない場合の次善の策の一つとして考えられている、プロフィール型尺度で測定されたPROスコアからのmappingにより計算された効用値を分析に用いている例(2024年の分析ガ

イドラインでは、その方法を使用する理由を記載することという注釈付きで許容)は、企業では8/20(40%)で使用していた。一方、公的分析ではその多くについて、実際には利用可能なEQ-5Dで測定された効用値があるとしてそれが再分析に用いられていた。

疾患領域別の考察としては、日本人対象の効用値を分析(再分析)に用いることができたケースは2品目(2型糖尿病と感染症(ただし類似疾患の測定例))のみであり、今後日本において、企業やアカデミアは、日本人を対象に直接測定した効用値のデータを積極的に蓄積するとともに、現在次善の策として検証がないまま用いられている、海外で得られた回答スコアを単に一般日本人の価値観へ変換するアルゴリズムを用いて効用値を算出する方法や、mappingを用いた費用対効果の分析結果を、日本の政策意思決定に用いることの妥当性を検証する研究をさらに推進することが求められている。さらに、日本においてはまだ殆ど使用されていないが、EQ-5D以外のgeneric PBMや、最近様々な思惑で開発が乱立し、考慮不足のまま使用される可能性がある様々なcondition-, or disease-specific PBMの取扱いにおける喫緊の研究課題についても触れた。

2. 諸外国の動向

諸外国における最近の試みについて、医薬品等の費用対効果評価における「重症度」の定量的な捉え方として、QALYショートフォール指標(Absolute Shortfall [AS]およびProportional Shortfall [PS])に着目し、これらの指標が国内の費用対効果評価制度にどのように活用され得るかを検討した。具体的には、海外(オランダ、ノルウェー、イギリス)の制度運用を調査し、それらにおけるQALYショートフォール指標に基づく閾値緩和の仕組みを整理した上で、日本において費用対効果評価が実施された品目についてASおよびPSを試算した。その結果、日本の「配慮あり」に該当するがん、希少疾患、小児疾患用の品目がNICEはQALYショートフォールの定量的評価と概ね整合的であることが明らかになった。今後、日本の費用対効果評価制度においても、QALYショー

トフォール指標に基づく重症度補正の体系的導入を検討し、社会的受容性と効率性の両立を図るべきと考えられる。

また、医療技術の有効性評価において重要な患者関連エンドポイントに代わる代替エンドポイントの取扱いの現状について海外主要国の医療技術評価 (HTA) 機関の評価方法ガイドライン、あるいはマニュアルとその関連の文書等を中心に調査、確認した。その結果、今回の対象 HTA 機関のガイドラインにおいて代替エンドポイントについての取扱いに関する規定、あるいは、方針が定められていたが、その内容は、その詳細さも含めて様々であった。特に妥当性の検証方法やその閾値においては一貫したコンセンサスが得られている状況ではなく、今後の我が国における費用対効果評価の分析ガイドラインへの採り入れの検討がなされる際にはこれらの方法の確立が最も重要と考えられた。

3. 我が国における学術的な検討

3-1 方法論に関するもの

人工知能 (AI : artificial intelligence) の発達や目覚ましいものがあり、これを費用対効果評価に応用する可能性について検討した。人口知能の明確な定義はないが、一般に、「大量の知識データに対して、高度な推論を的確に行うことを目指したもの」(人工知能学会より) と理解される。生成 AI (Generative AI) とは、入力データ (プロンプト) に基づいてテキスト、画像、またはその他のコンテンツを生成することができる AI システムをさす。基礎モデル (Foundation Models) とは、様々な目的を果たす機械学習モデルである。こうしたモデルは大規模なデータで訓練され、微調整の有無にかかわらず、幅広いタスクに適応可能である。大規模言語モデル (LLM : Large Language Models) は、この両者の条件を満たすものであり、膨大なテキストデータで学習された特定のタイプの基礎モデルで、膨大なデータセットから得られた知識に基づいて、テキストやその他のコンテンツを認識、要約、翻訳、予測、生成するものである。なお、GPT (Generative Pre-trained Transformer) は、OpenAI が開発した LLM であり、特に人間のよ

うなテキストを生成するのに適している。近年、医学研究や医療実践において、こうした生成 AI や LLM の利活用が急速に進んでいる。こうした動きは、医療技術評価 (HTA : Health Technology Assessment) の領域でも同様である。

生成 AI・LLM は、SR の実施や経済評価モデル構築を支援する有力なツールとなる。作業過程の一部を自動化し、エビデンスの統合、パラメータ化、レポート作成などの作業に必要な時間と労力を削減することができる。一方で、生成 AI・LLM は、人間の専門家に完全に取って代わるのではなく、それを補強しサポートする立場にあることを理解する必要がある。今後、医療者・研究者は、生成 AI・LLM 使用の限界に留意すべきで、規制・ルール、教育環境の整備に継続して取り組む必要がある。

また、リアルワールドデータの活用に向けて、データベース研究を客観的に評価するチェックリストを作成し、国内のデータベースを用いた薬剤疫学論文を用いて、そのリストの評価を行った。また、その評価結果によって明らかになった問題点を整理し、チェックリストの改善を行った。

介護費用の推計に関しては、介護 DB を活用した分析が期待される。そこで、NDB と介護 DB の第三者提供データを用いて、介護 DB 受給者台帳情報に含まれる提供先番号と ID4 の突合状況の評価、及び NDB 内の ID4 と介護 DB 内の ID4 の連結状況の評価を実施した。

介護 DB の受給者台帳情報内において、提供先番号 7, 720, 847 件のうち約 77% が ID4 と突合可能であった。さらに 2021 年 3 月の単月のレコードにおいて、提供先番号と突合可能な ID4 のうち NDB 医科レセプトと連結するのが約 62%、DCP レセプトと連結するのは約 3%、調剤レセプトと連結するのは約 37% であった。また 2020 年度における通年のレコードでは、NDB 医科レセプトとの連結は約 78%、DCP レセプトとの連結は約 18%、調剤レセプトとの連結は約 57% であった。

ID4 による NDB と介護 DB の連結が一定程度は可能であることが示唆された。ただし今回の検証では ID4 における複数紐付けや連結途切れなどの潜在的な問題に関する検証が行えていない。そのた

め NDB・介護 DB 連結データの活用のためには、さらに詳細な検証が必要である。

3-2 評価ツールに関するもの

費用対効果評価制度に基づき、新規治療薬に対する比較対照医薬品を国のナショナルデータベース (NDB) を用いて選定する方法の確立を目的として、診療エピソードの推移から対象医薬品の使用に伴って変化する医薬品や診療行為の資料資源投入量から、比較対照医薬品を推定する方法を検討した。

本研究の分析対象は健康状態が原則として不可逆かつ過去の先行研究において抽出経験のある疾患としてパーキンソン病を選定し、新規治療薬レボドパ・カルビドパ配合経腸用液 (LCIG) を研究対象に分析を実施した。

具体的には、パーキンソン病患者の診療エピソードをレセプト情報から抽出した。LCIG 群とパーキンソン病患者全体を比較し、年齢階級別の医療費・合併症発生率などを集計した。その結果、LCIG 群では入院外医療費が DBS 群より 3~4 倍高額であることが判明したものの、骨折・誤嚥性肺炎・精神疾患の発生率や在院日数には大きな差がなかったことが明らかとなった。

さらに治療エピソードを時系列で集計した結果、パーキンソン病の患者全体では、治療期間にバラツキがみられるものの、健康状態の悪化に伴って医薬品費が漸増していくが、在宅医療の医療資源投入量が始まり漸増すると医薬品の処方量が減少する傾向がみられた。一方、新規治療薬である LCIG 群では医薬品費が高位で推移し続け、在宅医療費はあまり変動しない特徴が明らかとなった。

本研究は、NDB を用いた比較対照群の選定手法が実践可能であることを示し、今後の費用対効果評価に資する手法の基盤を提示した。しかしながら、新規治療薬の使用者数が少なく対象患者の偏りや比較対照医薬品を同定するためのサブ解析等、分析上の課題も指摘された。本研究の基礎的分析を踏まえ、サブ解析方法および対象医薬品の拡充ならびに過去に費用対効果評価の対象となった薬剤群での妥当性検証を通じて、レセプト情報データベースから比較対照医薬品を推定するための実

用的な手法の確立し、ガイドラインへ提案が求められる。

また、近年、小児の難病や認知症など家族などインフォーマル・ケアラーの介護負担を考慮すべき疾患の治療薬が登場し、その費用対効果評価の際に介護者への影響を含めることの議論が盛んになっている。

日本の分析ガイドラインでも、「8 効果指標の選択」の中で、「8.7 公的医療・介護の立場」からの分析の場合、実際のデータがあれば家族等の介護者や看護者に与える QOL 値への影響について考慮に入れてもよい。」と明記されている。

一方で、海外の HTA 機関や学会などにおいても、共通の認識やガイドラインなどの策定には至っておらず、対応も分かれている。今後、国内でも介護者に影響を与える新薬が承認される可能性も高く、現時点の内外の状況を整理しておく必要がある。

諸外国の HTA 機関における介護者の QOL を費用対効果評価にどのように含めるのかについて、明確な決定がなされていない。また、ガイドラインに明記されていても、実際の事例はまだ少なく、対応策を決めかねている状況であると理解された。

また、平成 26 年 (2014 年) 度の厚生労働科 福田班において、国内で調査された QOL 値に関する論文のデータベースのアップデートを実施した。これは国内の費用対効果評価制度、そして医療経済評価研究に欠かせないデータのひとつである QOL 値について、日本国内で調査された研究論文を集めたものである。

国内で QOL 値を調査した論文の公表は昨年、一昨年と比べても減少した。疾患領域別では、整形外科疾患とがんの割合が多い点はこれまで同様であったが、その他の疾患の報告も増加傾向にあり、QOL 値の研究が疾患領域をまたいで広がってきていることが認識された。

その他の検証として、まず QALY と障害者・高齢者差別について検討した。米国では、QALY は、障害者や高齢者の差別に繋がるとされ、それを用いることは制限されてきたが、2024 年 1 月にそれがさらに厳しく禁止された法案が米国連邦議会の下院を通過した。そこで展開された議論は、命は等

しく平等であるという普遍的な価値観に基づいており、実際には党派性に基づく政争の要素はあるとしても、決して無視できないものである。

そこで今回は、QALY 批判の基盤をなす倫理学の言説に立ち戻って、検討を行った。特に、QALY trap という、障害者のようにスタート時点の QOL が低い場合は、むしろ QALY の大きな改善が望めるが、障害者に配慮してそこを平等にしまうと、QALY 増加という CEA の根幹をなす評価が成立しなくなるという代表的な QALY 批判の論法をもとに、平等主義としての格差原理、運の平等主義、目的論的平等主義、優先主義、十分主義について、医療資源配分との関連を念頭に検討を行った。

続いて、平等主義による QALY の修正という観点から、①Equity Weights and Social Welfare Functions（公平加重と社会厚生関数）②Mathematical Programming（数学的プログラミング）③MCDA (Multi-Criteria Decision Approach : 多基準意思決定アプローチの 3つのアプローチを検討した。

次に、公平加重の具体的な方法として、QALY shortfall を用いた閾値の緩和や ICER の加重について、ノルウェー、オランダ、英国の取り組みを紹介するとともに、その基盤となる倫理的観点として、フェアイニングと疾病負担に対する公平性からの論点について検討し、これら議論を踏まえて、我が国の費用対効果評価制度への提言を行った。

また、認知症関連の治療薬品の上市が続いており、我が国においても介護要因と薬剤経済に関わる議論が注目を集めている。特に、関連する領域特性を背景に、慢性疾患への処方における要介護度や社会経済の影響のメカニズムに対する探究、費用対効果評価への応用の要件などの検討が希求されている。そこで、介護水準と薬剤選択の動向について、大規模データを応用した縦断的研究のデザインで予備的な検討を試みた。本研究は、医療ビッグデータ (TheBD) を応用した、後ろ向き、多施設、長期縦断の研究デザインで実施した。本研究のコホートは、循環器関連の診断がなされて、保険診療による入院歴のある集団とした。分析期間は約 4 年間、サンプルは約 5 万人であった。そ

れに対して、臨床経済的な観点から、薬剤選択と要介護度の進展との関係を整理した。要介護度、臨床指標、処方選択と加齢との関係を整理した結果、要介護度のみならず、LDL-C の変位と後発薬率の水準は加齢とともに統計学的有意に上昇をしていた。要介護度の変位と後発薬の選択率の関係を整理したところ、要介護度が上昇した群の後発医薬品処方率は $51.0 \pm 20.0\%$ であった。要介護度が低下した群の後発医薬品使用率は $48.3 \pm 18.6\%$ であった ($p < 0.05$)。本研究の結果、要介護度の進展に伴い、後発薬の選択率は有意に上昇することが明らかとなった。以上から、介護ニーズ（介護施設などの入所含む）の増加群は、新薬の処方選択において、一定の制約（影響）があると示唆された。費用対効果評価の観点から考察を加えるならば、本研究の知見から、次の二つの示唆が得られる。一つ目は、新薬の普及や長期分析（生涯分析）の取扱いにおいて、介護領域は一定の制約が存在する可能性があり、治験などのデータの応用に留意が必要である。二つ目は、社会資源の消費（医療費用や介護費用）の積算において、相互の領域間でトレードオフが生じる可能性も想定され、モデルの設定などにおいて留意をする必要がある。今後は、介護が必要となる背景や、その進行メカニズムについて、さらに長期的な視点も含めて慎重に議論する必要がある。

費用対効果評価を学術的に妥当な方法で実施するためには、専門人材の育成が欠かせない。そこで、2024 年度より国立保健医療科学院の「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価のための人材育成事業（大学院前期課程相当のもの）」を受託して発足した、慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科の医療経済評価人材育成プログラムの初年度の報告を行った。

修士課程レベルの HTA コースでの人材育成は順調に進んでおり、年間 10~15 名が新規に参加している。また、公的分析班との連携も進んでおり、医療経済評価コース修了後、博士課程に進学するものや、すでに博士号を取得しているものを中心に公的分析への参加を勧めている。

大学院前期課程相当のものに対する人材育成によって費用対効果評価を含めた医療経済評価に興

味を持つ人材を広く受け容れつつも、公的分析を行い、品目の主担当を行うのに必要な能力を育成するために今後も、人材育成事業と公的分析事業の連携を深めることが必要だと考えられる。

4. 分析ガイドラインの改定方針の取りまとめ

1年目の研究及び2年目の検討を踏まえて、分析ガイドラインの改定作業を2年目に実施する。

D. 結論

本研究では、費用対効果評価の学術的な課題について、これまでの評価結果や諸外国の同様の制度における最近の取り組み、さらに分析方法やツ

ールの検討などを行った。これらの検討を踏まえて、2年目の研究において、分析ガイドラインの改定作業を行い、提案する予定である。

E. 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

なし

「日本の公的分析における効用値の取扱いの実態と課題」

研究分担者 下妻晃二郎

(立命館大学 総合科学技術研究機構 医療経済評価・意思決定支援ユニット (CHEERS) 教授)

研究の要旨

2019 年度から本格的に開始された「費用対効果評価制度」(以下、制度)において、2024 年末までに公的分析による結果が公表されている計 32 品目の分析について、健康効用値 (Health-State Utility Values: HSUV) (以下、「効用値」と表記) の取扱いの実態と課題についてまとめた。公的分析においては品目間の評価方法の公平性はとても重要である。一方、社会の価値観の変化や、新規メカニズムによる製品の出現、学問の発展に伴い、本制度における分析手順書である「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン」(以下、分析ガイドライン) の改訂もまた必要である。検討に判断材料を提供するため、本報告では、従来の公的分析における効用値の取扱いに関するレビューを行った。

効用値の取扱いに限らず、そもそも企業の分析結果が公開されていたのは 16/32(50%)であったため、一部は公的分析側の報告書に記載があればそれを参考にしてまとめた。

企業は 12/32(37%)の品目における分析で、効用値として EQ-5D で測定した結果を使用した。うち日本人を対象とした測定結果を使用した例は 2/12(17%)であった。2023 年度までの品目では 50%であり、2024 年度は使用割合が減っていた。残りの 10 品目のうちの 8 品目 (80%)では、主に日本人ではない対象で測定された EQ-5D から得られた回答スコアを、一般日本人の価値観に変換するために開発されたアルゴリズムを用いて算出した効用値が用いられていた。このような方法は、2024 年に改訂された分析ガイドラインで、許容する記載が追加されたが、元の測定対象が日本人でない回答スコアに対して一般日本人の価値観に単に変換して算出した効用値が妥当かどうかについての検証はほとんど行われていない (昨年度の本研究班の報告で、海外からの 3 つの報告では、妥当ではないとされている)。次に、効用値のデータがどうしても得られない場合の次善の策の一つとして考えられている、プロフィール型尺度で測定された PRO スコアからの mapping により計算された効用値を分析に用いている例 (2024 年の分析ガイドラインでは、その方法を使用する理由を記載することという注釈付きで許容) は、企業では 8/20(40%)で使用していた。一方、公的分析ではその多くについて、実際には利用可能な EQ-5D で測定された効用値があるとしてそれが再分析に用いられていた。

疾患領域別の考察としては、日本人対象の効用値を分析 (再分析) に用いることができ

たケースは2品目（2型糖尿病と感染症（ただし類似疾患の測定例））のみであり、今後日本において、企業やアカデミアは、日本人を対象に直接測定した効用値のデータを積極的に蓄積するとともに、現在次善の策として検証がないまま用いられている、海外で得られた回答スコアを単に一般日本人の価値観へ変換するアルゴリズムを用いて効用値を算出する方法や、mappingを用いた費用対効果の分析結果を、日本の政策意思決定に用いることの妥当性を検証する研究をさらに推進することが求められている。さらに、日本においてはまだ殆ど使用されていないが、EQ-5D以外の generic PBM や、最近様々な思惑で開発が乱立し、考慮不足のまま使用される可能性がある様々な condition-, or disease-specific PBM の取扱いにおける喫緊の研究課題についても触れた。

A. 研究目的

厚生労働省においては、上市が承認され公定価格が決定された医薬品・医療機器の一部（著しく高額、財政影響が大きい品目など）について、費用対効果を加味した、公定価格の再調整システム、いわゆる「費用対効果評価制度」（以下、制度）が2019年度から開始された。

立命館大学 総合科学技術研究機構 医療経済評価・意思決定支援ユニット（CHEERS）では、公的分析機関の一つとして初年度から国立保健医療科学院(C2H)から分析を受託し、2024年末までに32品目の分析を終え、厚生労働省で政策応用方法まで決定したのちに分析結果がC2Hのホームページで公表されている。

本研究班の2021年度の報告書においては、日本の制度における健康効用値(Health-state utility values: HSUV)（以下、「効用値」と表記）の取扱いのうち、Patient-reported outcome (PRO)尺度で測定したスコアから効用値に変換する一つの手法である mapping の取扱いと、mappingに関する国際的なガイドラインの紹介を行った。また、2022、2023年度の報告書においては、mappingの取扱いに加えて、2019年度に本制度が日本で開始されて以降の、企業と公的分析における効用値の取扱いの実態と課題についてまとめた。

本年度（2024年度）の報告では、2023年度の報告をさらに充実させ、2024年末までにC2Hのホームページで分析結果が公表されている計32品目について、効用値の取扱いの実態と課題についてまとめた。

このようなまとめを行う目的は、公的分析において品目間の評価方法の公平性が担保されているかを確認することが大事である一方、アカデミアに分析手法に関する新たな知見や、対象製品の性質の変化等による時代の変化や進歩を、企業や公的分析の分析手法の手順書である、いわゆる「分析ガイドライン」（正式名称は、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン」）の改訂に反映するための検討材料を提示することである。

本報告が、日本の将来の様々な制度改革につながることを期待する。

B. 研究方法

C2H のホームページ上で、2024 年末までに分析結果が公表されている計 32 品目について、効用値の取扱いの実態と課題についてまとめた。

具体的には、まず、企業側が、(1) そもそも分析結果を公表したか、次に、(2) 効用値の測定尺度として包括的（一般的）選好型尺度(generic preference-based measure (PBM))、その中でも代表的な EQ-5D をどの程度採用していたか、(3) EQ-5D を採用している品目のうち、日本人対象に測定された効用値はどのくらい使用されていたか、(4) 日本人対象に EQ-5D で測定された効用値の疾患別特性はどうか、(5) (2) で EQ-5D を採用しているうち、日本人以外（外国人）で測定された回答スコアを、2024 年の分析ガイドラインで次善の策として推奨されている方法である、日本の一般人の価値観に変換するアルゴリズムを用いて効用値を算出した品目はどのくらいあったか、(6) EQ-5D のデータがそもそも得られないとして、得られる PRO スコアから mapping して算出された効用値を用いた例がどのくらいあったか、について、まとめた。

さらに、公的分析側の課題として、(7) 報告書に企業の効用値の取扱いの課題について記載していたか、(8) 企業の公的分析の取扱いを許容したか、についてまとめた。

倫理面への配慮：公表資料をまとめたため、特に配慮は必要としない。

C. 研究結果

企業と公的分析における効用値の取扱いの詳細とそのまとめをそれぞれ、表 1、2 に示した。さらに、表 2 の結果の一部を、理解しやすいように可視化し、図 1、2 に円グラフで示した。

- (1) 企業はそもそも分析結果をどのくらい公開していたか
16/32(50%)で公開していた。以下、公的分析側の報告書に記載があれば、企業の公開情報がなくてもそれを参考にしてまとめた。
- (2) 効用値の測定尺度として generic PBM の代表的なものとしての EQ-5D をどのくらい使用していたか
12/32(37%)において EQ-5D で測定した結果を使用していた。
- (3) (2) のうち、日本人を対象とした測定結果が用いられていたのはどの程度か
2/12(17%)であった。
- (4) (3) で用いられていた品目の疾患特性はどうであったか
その 2 品目は 2 型糖尿病と真菌症の治療薬であった。後者は類似疾患患者で測定された結果が用いられていた。
- (5) (2) で EQ-5D が用いられたうち、日本人以外（外国人）で測定された回答スコアを日本の一般人の価値観に変換するアルゴリズムを用いて効用値を算出した品目

はどのくらいあったか

8/10(80%)の品目においてそのような算出方法が使用されていた。

- (6) EQ-5D のデータが得られず、PRO スコアから mapping して算出された効用値を用いた品目がどのくらいあったか

8/20(40%)あった。それらのいくつかは、実際には EQ-5D のデータが得られるにも関わらず、企業は EQ-5D では疾患特性が十分捉えられないとの理由で不採用としていた。公的分析ではそれらの多くについて、得られる EQ-5D のデータを再分析に用いていた。

- (7) 公的分析側の課題として、報告書に企業の効用値の取扱いの課題について記載していたか

24/32(75%)で何らかの課題を指摘していた。

- (8) 公的分析では企業の効用値の取扱いを許容していたか

16/32(50%)で許容していた。

表1a 企業と公的分析における効用値の取扱いの詳細 (2019-23年度)

ID	商品名	一般名	効能・効果	企業の分析	公的分析	まとめ・コメント
C2H1901	テリルジー	フルチカソノメグリジニウム/ピロテンロール	慢性閉塞性肺疾患 (慢性気管支炎・肺気腫)	SGRQ = EQ-5D(mapping)	mapping手法そのものに課題は指摘していないが、EQ-5Dによる直接測定で有意差が認められていないため、モデルにおいて差をつけないと判断	企業のmappingよりEQ-5Dのデータを優先
C2H1902	キムリア	チザンレクルユーセル	再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫	・EFSでは、SF36=HUI2(mapping) ・PDでは、CHRs=EQ-5D(mapping) (Age-related QOLの調整について、EQ-5D-3Lを用いたTsuchiyaらの方法を採用)	・EFS、PDで複数の方法が混在しているのは良くない。 ・他の論文のEQ-5D-3Lの値を採用 (Age-related QOLの調整方法を直近のEQ-5D-5Lを用いたShiroyaらの方法に変更) (disutilityの方法も変更)	複数の方法の混在よりも一つの研究由来のEQ-5Dの値に統一
C2H1903	ユルトモリス	ラプリスマブ	発作性夜間ヘモグロビン尿症	EORTC QLQ-C30=EQ-5D(mapping)	企業分析のmappingを許容 (投与間隔の延長による増分utilityは認めず)	企業のmappingを許容
C2H1905	トリンテリックス	ホルチオキセチン	うつ病・うつ状態	CMA	-	-
C2H1904	コララン	イバロラン	慢性的心不全	NVHA(重症度)や背景からモデル化し推定	一部NVHAを反映していない増分値を除外して採用	企業の監断判断など客観的評価を修正採用
C2H2001	ノクソファル	ボソコナゾール	深在性真菌症	日本の類似疾患のEQ-5D-5Lのデータと、他の類似疾患のIF発症に関する研究から得られたdisutilityを組み合わせて使用	utilityに関するレビューの記載が見当たらない	utilityのレビューの記載なし
C2H2002	カボメテックス	カボサチニブ	腎細胞癌、肝細胞癌	・腎細胞癌：国際分析モデルで推定 ・肝細胞癌はCMA	腎細胞癌：不確実性が高いため推定値に幅を持たせて感度分析施行 肝細胞癌はCMA	企業の国際分析モデルによる推定を許容
C2H2003	エンハーツ	トラスツマブデルクスタカン(遺伝子組換え)	乳癌、胃癌	・乳癌：実用対象者のSGSで、健康状態とAEの組合せで推定されたSF-36からEQ-5Dにmappingした値を使用 ・胃癌：費用増加	・乳癌：企業の三次治療以降の部分集団で用いた効用値は低すぎると指摘。修正後再計算 ・胃癌：EQ-5D-5L	乳癌：企業のUK対象のSGとAEからの推定から修正 胃癌：EQ-5D-5L
C2H2007	リヘルサス	ゼマグルチド	2型糖尿病	・日本人あるいは外国人を対象とした、測定方法(EQ-5D-3L・5L、TTO)や集団の異なる複数の文献より推定 ・BMIのdisutilityについては、海外データに基づいて、BMIが25kg/m ² 以上の患者について、BMI 1 kg/m ² 増加あたりに対して0.062のQOL値の減少を採用	・データソースの一貫性を確保する観点から、サンプルサイズが大きく、かつ、直近の研究である日本のEQ-5D-5L報告値に基づいて推定 ・BMIのdisutilityについては、国内データに基づいてBMIが35kg/m ² 以上の患者に対して、0.048のQOL値の減少を採用	企業の、複数の国の集団や複数の測定方法から日本人のEQ-5Dに統一
C2H2101	エムガルティ	ガルカネスマブ	片頭痛発作の発症抑制	EQ-5D-3Lや5Lのデータがあるにも関わらず、本製品のutilityを反映していないとして、UKで測定したMSQ(the migraine-specific quality of life questionnaire)のデータをUKのアルゴリズムを用いてEQ-5D-3Lへmappingしたデータを使用	企業からEQ-5D-5Lスコアについて、MHD(Migraine headache cay)を説明変数として回帰したデータを取得し、日本のアルゴリズムを用いて分析に用いた	企業のmappingではなく、企業が有するEQ-5Dスコアについて、プロフィール型尺度の結果を説明変数として回帰したデータを、日本のアルゴリズムを用いて再分析
C2H2103	ボライビー	ボラスツマブドベン	再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫(DLBCL)	・類似対象集団であるキムリアの臨床試験(JULIET試験)で測定されたSF-36からEQ-5Dにmappingした値を使用 ・70歳未満と70歳以上で分けた値を分析に使用	・イースカルの臨床試験であるZUMA-1で測定されたEQ-5D-5Lを用いた ・年齢調整は、企業による70歳未満と70歳以上で分けて、60歳を基準として調整	企業のmappingではなくてEQ-5Dを採用
C2H2104	ダラキエロ	ダラツマブ/デルカニドゲゼアルファ	多発性骨髄腫 全身性ALアミロイドーシス	・多発性骨髄腫についてはCMA ・全身性ALアミロイドーシス 海外臨床試験(ANDROMEDA)のEQ-5D-5Lのデータを日本のアルゴリズムで変換したものを使用 ・副作用のdisutilityについては、様々な文献から引用(主にSG、EQとSFからのmappingも使用)	・多発性骨髄腫はCMA ・全身性ALアミロイドーシス 臨床試験において、末期臓器不全状態の血液透析が必要な不全と心不全の割合は明らかにされており、心不全によるutilityの低下を、企業が設定した50%と仮定した分析を実施	企業の、海外のEQ-5Dスコアを日本のアルゴリズムで変換したものを採用
C2H2105	アリケイ	アミカシン錠剤	適応菌種：アミカシン感受性のマイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC) 適応症：MACによる肺非結核性抗酸菌	一般の日本人を対象として健康状態(肺MAC症候性状態・肺MAC症候性状態)を推定することにより、TTO(Time-trade off)法を用いて測定した値を使用	INS-212試験では肺MAC症患者を対象にEQ-5D-3Lを用いてutilityが測定されているため、その結果を日本のアルゴリズムで変換して分析	企業の、日本の一般対象のTTOの測定値ではなく、海外のEQ-5Dスコアを日本のアルゴリズムで変換して使用
C2H2110	レバスティブ	デユグルチド(遺伝子組換え)	短腸症候群	専門家意見に基づく積み上げ計算、および、UKの一般集団を対象としたビニエツト研究(TTO ベース)により設定	企業設定を許容	企業の専門家意見とUK一般集団を対象としたTTOを許容
C2H2111	ヘクルーリー	レムデシビル	SARS-CoV-2による感染症	症状によるdisutilityを、先行研究(COVIDおよびインフルエンザのデータ)及び米国ICERの評価モデルを参考に設定	効用値のパラメータに関するレビューの記載が見当たらない	-
C2H2112	Micra AV	経カテーテルペースンクシステム	カテーテルを用いて経皮的に右心室内に置かれる電極一極型の埋込み型心臓ペースメーカ	・埋込み後6か月までは、先行の観察研究におけるSF-36の集計をEQ-5Dにmappingしたものを採用した ・埋込み後12か月以降は別の観察研究の結果をベースとし、両群のutilityの差が6か月時点の差の1/4で推移すると仮定	・埋込み後6か月までは、製造販売業者の分析で用いられた文献におけるSF-36は期間での共変量での調整がなされていないため、より内面的妥当性が高いと考えられる研究におけるSF-36の報告値を用いて再分析(mapping)を行った ・埋込み後12か月以降については十分なエビデンスが存在しないことなどから、期間で差分を設定しないこととした	企業のmappingを修正採用
C2H2113	レットワイモ	セルバルカチン	RET融合遺伝子陽性の切除不能進行・再発の非小細胞肺癌/甲狀腺癌 RET融合遺伝子陽性の切除不能進行・再発の非小細胞肺癌/甲狀腺癌	・肺癌 EORTC QLQ-C30から複数の方法でmappingしEQ-5Dを算出、最も低いデータを採用 mappingアルゴリズムは日本人対象のものではない ・甲狀腺癌 UKの一般人を対象としたVignette Studyの結果をutility(無増悪時0.80、増悪時0.50)として採用	EORTC QLQ-C30からEORTC QLU-C100への日本人対象のアルゴリズムを企業に提供し、各健康状態のutilityの再算出を依頼 ・甲狀腺癌 他薬剤のRCTで測定したEQ-5Dデータから、企業の増悪時のutilityは過小評価の可能性ありと懸念。肺癌と同様の方法を採用	・海外のEORTC QLQ-C30の生データから日本のアルゴリズムを用いてQLU-C100のutilityを算出 ・当時から公表のアルゴリズムを企業に提示し再分析を依頼した適切性は議論の余地あり
C2H2114	バドセブ	エンホルツマブドベン	がん化学療法後に増悪した根治切除不能な尿路上皮癌	記載なし	「加齢及び有害事象による utilityの低下は僅かだと仮定し、モデルに考慮しない」との記載がなく、詳細は不明	utilityの詳細が不明
C2H2115	Expedium Verse Fenestrated Screwシステム	腎臓内固定器具	胸椎、腰椎および仙椎における、変性疾患、外傷、腫瘍等による不安定性を有する患者、または脊柱変形を有する患者に対する、腎臓の一時的な固定、支持またはアラメント補正	CMA	-	-
C2H2201	リフヌア	ゲーフアピキソトクエン酸塩	難治性の慢性咳嗽	海外のEQ-5D-5Lの結果を日本のアルゴリズムで変換	企業の手法を採用	企業の、海外のEQ-5Dスコアを日本のアルゴリズムで変換したものを採用
C2H2202	ヒララツツ	クラゾセントナトリウム	脳動脈瘤によるくも膜下出血術後の脳血管障害、及びこれに伴う脳梗塞及び脳出血症状の発症抑制	日本人の介護者対象の調査によるEQ-5D-3L	企業の手法を採用	企業の手法に課題はあるが、採用
C2H2203	ビゼラセックス	ビメキスマブ(遺伝子組換え)	既存治療で効果不十分以下の疾患(慢性乾癆、肺線維化、乾癆性紅皮症)	ビメキスマブのRCTより得られたEQ-5D-3Lのプールデータに対して日本のアルゴリズムを採用	企業の手法を採用	企業の、EQ-5D-3Lのプールデータに対して日本のアルゴリズムを採用したものを採用
C2H2204	ウィフコート	エフカルチキモドアルファ(遺伝子組換え)	全身型重症筋無力症	QMGスコアからEQ-5D-5Lへmapping	企業の設定を、薬物と非薬物患者の値をそれぞれの割合で重みづけ修正	プロフィール型尺度からEQ-5D-5Lへmapping
C2H2205	ジスバル	バルヘナジントシル酸塩	過敏性ジスキネジア	日本人対象の探索的調査データがあったにもかかわらず海外のEQ-5Dの結果をもとにdisutilityを算出	日本人対象の調査が適切ではないとの企業の主張を受け入れた	海外のEQ-5Dデータを採用
C2H2206	グレンディア	フィネレノン	2型糖尿病を合併する慢性腎臓病。ただし、末期腎不全又は透析施行中の患者を除く	日本人対象のEQ-5D-5L	企業の手法を採用	日本人対象のEQ-5D-5L
C2H2207	オンデキヤ	アンデキヤネットアルファ(遺伝子組換え)	直接作用型Xa因子阻害剤投与中の患者における、生命を脅かす出血又は止血困難な出血の発現時の抗凝固作用の中和	最終報告書に、日本人対象の調査結果を用いた(企業報告書の参照頁に記載)と書いているが、企業報告書自体がHPに掲載されていないため、使用尺度など詳細は不明	記載なし	utilityの詳細が不明
C2H2208	ラヴプリオ	モルシバラビル	SARS CoV 2による感染症	UKの一般人500人を対象に、ビニエツトで説明される8つの健康状態に関するEQ-5D-5L 質問票への回答が収集され、そのスコアを、日本人対象のアルゴリズムを用いて変換し算出	CMAの方針となったため、企業の手法についてのコメントはなし	企業は、一般人対象ビニエツト調査を、ガイドラインが推奨する方法ではなくEQ-5D-5Lで行ったデータを使用したとしてもCMAではなく費用効果分析が行われた場合はその適切性が問われたケース

表 1 b 企業と公的分析における効用値の取扱いの詳細 (2024 年 4-12 月)

ID	商品名	一般名	効能・効果	企業の分析	公的分析	まとめ・コメント
C2H2209	ソーティック	デュークラシチニブ	尋常性乾癬、固癬性乾癬、乾癬性紅皮症	OETKY-PSO-1試験及びPOETKY-PSO-2試験とNICEにおける過去の費用効果分析のEQ-5D-3Lのアルゴリズムを用いた	日本版版換算表を用いて換算されていないQOL値を統合することに課題があるとして、日本の換算表を用いて換算したPOETKY-PSO-1試験及びPOETKY-PSO-2試験のEQ-5D-3Lのアルゴリズムを用いて再分析を実施	日本のアルゴリズムを用いて再計算をしたことがより明らかかどうかは学術的には不明であり、課題が残る
C2H2210	デゼスバイア	デゼヘルマブ (遺伝子組換え)	難治性の気管支喘息	記載なし	記載なし	報告書において、効用値に関して一切の記載がないのは問題
C2H2212	マンジャロ	チルゼ(チド)	2型糖尿病	海外の複数の文献から引用。またBMI減少の割合に伴って効用値が改善するとし、分析モデルの1年目にTTO(Time Trade-Off)調査を基にした効用値を設定し、2年目以降のBMIと効用値の関係については欧州における2型糖尿病患者を対象にしたEQ-5D-3Lによる研究結果を使用	TTO調査を基にした効用値は採用せず、2年目以降のBMI増加による効用値については、日本人2型糖尿病患者を対象にEQ-5D-5Lを用いて調査された研究結果を使用	日本人のEQ-5D-5Lのデータを信頼的に用いた点は評価できる
C2H2213	ソコーバ	エンストレルビル フマル酸	SARS-CoV-2による感染症	COVID-19罹患中の入院を伴う健康状態の効用値として、ビニエツト法(記述された健康状態について一般人にその状態を想起させることにより評価を行う手法)に基づく調査データを使用	公的分析では結果的にCMAを選択したが、企業分析において下記の課題を指摘した。企業採用の効用値は英国の一般人を対象に、ビニエツトで記述された健康状態について、EQ-5D-5Lのどの訳語に該当するかを調査したものであり、得られたデータは英国の換算表を用いて効用値に変換された。しかし、費用対効果評価の分析ガイドライン第3版では、対象者本人から効用値を得ることが困難な場合には一般の人々を対象に健康状態を想起させることにより基準的簡便法や時間得失法といった直接法の手法を用いて効用値を測定してもよいとされている。EQ-5D-5Lのような簡便法に基づく尺度に回答することは学術的にも課題がある。	公的分析では最終的にCMAとし、費用効果分析をしていないが、企業採用の効用値についての判断を報告書に述べていることは、今後の同様の医薬品評価に役立つ可能性があり、評価できる。
C2H2301	ハスレミ	ロベグインター フェロン アルファ-2b (遺伝子組換え)	異性多血症	各健康状態の効用値は、一般人を対象としたビニエツトに基づくTTO法によって取得された値を使用	企業が分析で用いた効用値に関して、ロベグインターフェロン-2bの治療効果が多大に見込まれている可能性を考慮し、CONTINUATION-PVにおいて取得されたEQ-5D-3Lによる効用値を用いることが適切であると判断し、再分析を実施	公的分析ではビニエツト法に基づくTTOよりも実施されたEQ-5Dの値を優先して使用した

表2a 取扱いのまとめ (2019-23年度)

ID	商品名	企業：分析結果の公開の有無	公的分析：企業分析結果の採用の有無	企業の効用値設定の説明とそれに対する公的分析のレビューの有無	企業：EQ-5Dデータの有無	企業：EQ-5Dを用いている場合、日本人のアルゴリズム使用の有無	企業：日本人のEQ-5Dデータの有無	企業のmappingの有無	公的分析のmapping使用の有無	公的分析：企業の方法を不採用だった場合の企業と再分析の方法
C2H1901	テリルジー	○	×	○	×	-	-	○	×	EQ-5Dデータを採用（有意差を認めないため実際には使用せず）
C2H1902	キムリア	○	×	○	×	-	-	○	×	一つの研究から得られたEQ-5Dデータに統一採用
C2H1903	エルトミリス	×	○	○	×	-	-	○	○	-
C2H1905	トリンテリックス	○	-	×	-	-	-	-	-	-
C2H1906	コララン	×	×	○	×	-	-	×	×	医師判断などの客観的評価を修正採用
C2H2001	ノクサフィル	○	○	×	○	○	○	×	×	-
C2H2002	カボメディクス	×	○	○	×	-	-	×	×	-
C2H2003	エンハーツ	○	乳癌× 胃癌○	○	乳癌× 胃癌○	胃癌○	胃癌○（日本と韓国）	×	×	乳癌：企業とSFとQEの組み合わせを修正採用
C2H2007	リヘルサス	○	×	○	○	○	○	×	×	日本人のEQ-5Dデータに統一
C2H2101	エムガルディ	○	×	○	×	-	-	○	×	海外のEQ-5Dスコアを日本のアルゴリズムで変換
C2H2103	ボライビー	×	×	○	×	-	-	○	×	海外のEQ-5D-5Lデータを日本のアルゴリズムで変換
C2H2104	ダラキューロ	○	○	○	○	○	×	×	×	海外のEQ-5D-5Lデータを日本のアルゴリズムで変換
C2H2105	アリケイス	×	×	○	×	-	×	×	×	海外のEQ-5D-5Lデータを日本のアルゴリズムで変換
C2H2110	レベスティブ	×	○	○	×	-	×	×	×	-
C2H2111	ベクルリー	×	○	×	×	-	-	×	×	-
C2H2112	Micra AV	○	×	○	×	-	×	○	○	企業のmappingを修正採用
C2H2113	レットヴィモ	○	×	○	×	-	×	○	×	海外のEORTC QLQ-C30の生データから日本のアルゴリズムを用いてQLU-C10Dのutilityを算出
C2H2114	バドセブ	×	○	×	×	-	-	-	-	-
C2H2115	Expedium Verse Fenestrated Screwシステム	×	-	×	×	-	-	-	-	-
C2H2201	リブヌア	○	○	○	○	○	×	×	×	-
C2H2202	ピブラッツ	○	○	○	×	×	×	×	×	日本人のEQ-5Dデータであるが、介護者調査によるものを採用
C2H2203	ピンゼレックス	×	○	○	○	○	×	×	×	-
C2H2204	ウィフカート	×	×	○	×	-	-	○	○	企業のmappingを修正採用
C2H2205	ジスバル	○	○	○	○	-	×	×	×	-
C2H2206	ケレンディア	×	○	○	○	○	○	×	×	-
C2H2207	オンデキサ	×	○	×	-	-	-	-	-	-
C2H2208	ラグブリオ	○	-	×	○	○	×	×	×	-

表2b 取扱いのまとめ (2024年4-12月)

ID	商品名	企業：分析結果の公開の有無	公的分析：企業の分析方法の採用の有無	企業の効用値設定の説明とそれに対する公的分析のレビューの有無	企業：EQ-5Dデータの有無	企業：EQ-5Dを用いている場合、日本人のアルゴリズム使用の有無	企業：日本人のEQ-5Dのデータの有無	企業のmapping使用の有無	公的分析のmapping使用の有無	公的分析：企業の方法を不採用だった場合の企業と再分析の方法
C2H2209	ソーティクツ	○	×	○	○	×	×	×	×	日本語版換算表を用いて換算されていない効用値を統合することに課題があるとして、日本の換算表を用いて換算したPOETYK-PSO-1試験及びPOETYK-PSO-2試験のEQ-5D-3Lのプール値を用いて再分析を実施
C2H2210	テゼスバイア	×	記載なし	記載なし	記載なし	記載なし	記載なし	記載なし	記載なし	報告書において、効用値に関して一切の記載がないのは問題
C2H2212	マンジャロ	○	○	○	○	○	×	×	×	企業はbaselineに海外の複数の文献から引用、BMI減少に伴うdisutilityをTTO調査を元に推計した値を用いたが、公的分析では、両者ともに日本人2型糖尿病患者を対象にしたEQ-5D-5Lデータを使用
C2H2213	ソコーバ	×	○	○	×	×	×	×	×	公的分析では最終的にCMAとし、費用効果分析をしていないが、企業採用の効用値についての判断を報告書に残していることは、今後の同様の医薬品評価に役立つ可能性があり、評価できる。
C2H2301	ヘスレミ	×	×	○	×	×	×	×	×	公的分析ではビニエット法に基づくTTOよりも実測されたEQ-5Dの値を優先して使用した

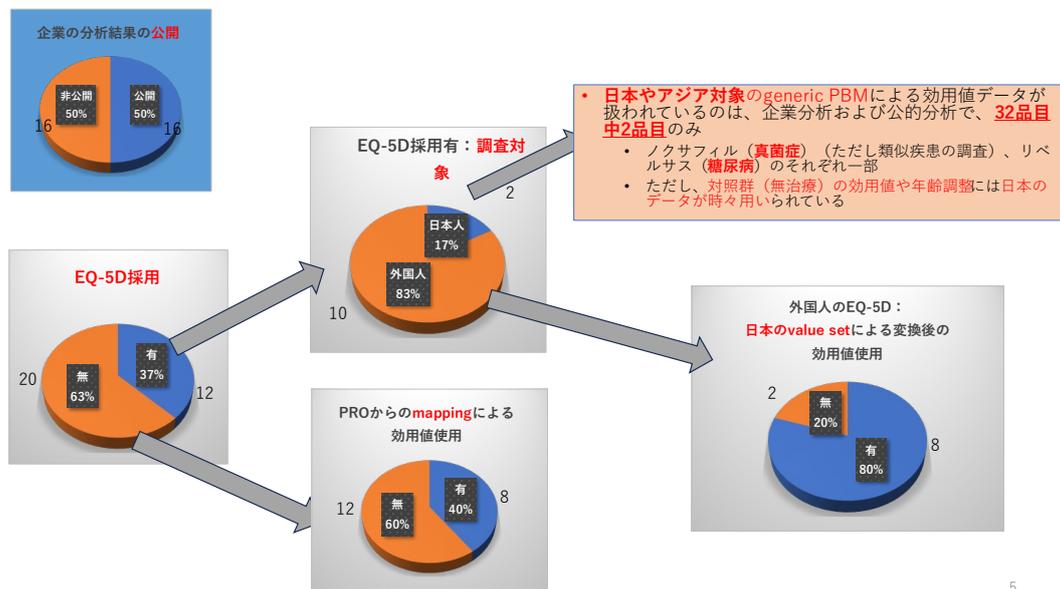


図1 結果の一部の可視化（企業分析）



図2 結果の一部の可視化（公的分析による課題の指摘の有無と再分析方針）

D. 考察

制度において、2019年度から2024年末までに公的分析による結果が公表されている計32品目の分析について、効用値の取扱いの実態と課題についてまとめた。

まず、企業による分析結果の公開は50%であった。企業としての機密情報が一部ありえることは理解できるが、制度の発展のため、および、分析の透明性を増すためにも、企業は報告書の公開をさらに進めることが望まれる。

企業は37%の品目でEQ-5Dで測定した結果を使用していたが、そのうち日本人を対象とした測定結果を使用していたのはわずか2品目、17%に過ぎなかった。また、残りの品目の多くでは、企業は主に日本人以外を対象として測定したEQ-5Dの回答スコアを、単に日本のアルゴリズムで変換して算出した効用値を用いて分析し、また公的分析でもそのような分析を許容しているケースが少なくないことがわかった。昨年度までの報告でも考察しているが、そもそもEQ-5Dの回答スコアから一般健康人の価値観に変換するアルゴリズムは、このような使い方をするために開発されたものではない。日本を含めた各国版の変換アルゴリズムは、回答スコアの調査対象と得られる効用値の国民が同じ国の人々であって初めて意味を持つ。回答スコアの調査対象と得られる効用値が応用される国が異なるような変換にアルゴリズムを用いた場合、どのようなことが起こっている可能性があるだろうか。例えば、健康関連QOLのレスポンスシフトの研究で重要な3要因とされる、i)基準の変化、ii)重視する要素の順序や重みの変化、iii)ある調査項目が帰属する要素の変化・再構成、において何が起きうるかを考えてみると、おそらく、i)に関連して、他の国の患者で測定した回答スコアの最低値と最高値（これは、もちろん、必ずしも効用値の0と1ではない）が無理やり日本の効用値がとりうる範囲に圧縮されていると想像されるが、ii)の要素の重みの順序と、iii)の要素の構成においては、そもそも日本人と異なる外国人の回答スコアの性質が結果的に日本の効用値に適切に変換されている可能性は高くないと思われる。また、昨年度の報告に記載しているように、このような外国人で測定した回答スコアを別の国のアルゴリズムで変換した結果の妥当性を検証した研究では、妥当ではないという報告が複数認められる。これらの分析の結果は、日本における重要な政策応用に反映されるのであるから、丁寧な検証を重ねる必要があると思われる。

次に、mappingについては、公的分析では、その多くは企業の主張をそのまま受け入れず、文献検索等で得られる効用値を最大限採用していたが、そのような姿勢を続けることは、分析の品目間公平性を考える上で望ましいことである。もちろん、EQ-5Dがその疾患や治療の特性について反映できていない場合もあると思われるが、一般にPRO尺度で測定できる測定範囲（尺度の長さ）は効用値よりも狭い（尺度が短い）ことが想定され

（PRO尺度の各質問項目は、PRO尺度における一定の変化は、効用値にmappingされた場合に相対的に小さい変化となることは常識的に考えてありうることである（PRO尺度の各質問項目は、一般に最低の健康と最高の健康という広い範囲については問うていな

い)。これは必ずしも疾患特性とは関係ない。従って、mapping により得られた効用値を分析において広く受け入れすぎると、常にその品目に有利な結果を用いる危険性がある。

一方で、違う国のアルゴリズムを用いて回答スコアを変換することの妥当性の可否についてのところでも考察したが（mapping の課題とかなり似ている）、そもそも generic PBM の中でも EQ-5D, HUI, SF6D はそれぞれ、質問している項目内容や重視する要素が異なり、得られた効用値の適切な補正も困難であることが知られている。そのような状況において、昨今、それぞれの疾患や治療の特性をより反映できる効用値尺度として、状態・疾患特異的 PBM 尺度（例：EORTC QLU-10D, FACT-8D, ASCOT, EQ-HWB）が次々と開発されつつある。数年前より、欧州の 3 ヶ国において、HTA における倫理面の配慮の一つとして、従来はアプレイザルにおける合議で行っていたものを、疾患の重症度や負担度について、半定量的に QALY の quality weight に重み係数をつけて計算したり、費用対効果的かどうかの判断の閾値に段階をつけたりするなどの工夫が始まっているが、それ以前に、上記で述べたような、様々な目的や思惑で開発が乱立している、generic PBM 尺度相互、あるいは condition-, or disease-specific PBM 間の補正の方法などについて、さらに研究を進めることが、将来の、品目間公平性を担保する HTA の進歩のためには必要ではないだろうか。

E. 結論

2024 年 12 月末までに C2H のホームページ上で公開されている 32 品目の報告書をもとに、企業と公的分析における効用値の取扱いの実態と課題をまとめた。HTA における公的分析は、分析時間が限られており、手法はなるべく保守的に行われることが適切であるが、分析ガイドラインの定期的な改訂は、あくまで学問的な裏付け確実に進めることが望まれる。

医薬品・医療機器等の費用対効果評価における分析ガイドラインの改定に資する研究
分担研究報告書

QALY shortfall の政策利用の動向とわが国への適用可能性

研究分担者 池田俊也 国際医療福祉大学医学部 公衆衛生学

本研究では、医薬品等の費用対効果評価における「重症度」の定量的な捉え方として、QALY ショートフォール指標 (Absolute Shortfall [AS] および Proportional Shortfall [PS]) に着目し、これらの指標が国内の費用対効果評価制度にどのように活用され得るかを検討した。具体的には、海外 (オランダ、ノルウェー、イギリス) の制度運用を調査し、それらにおける QALY ショートフォール指標に基づく閾値緩和の仕組みを整理した上で、日本において費用対効果評価が実施された品目について AS および PS を試算した。その結果、日本の「配慮あり」に該当するがん、希少疾患、小児疾患用の品目が NICE は QALY ショートフォールの定量的評価と概ね整合的であることが明らかになった。今後、日本の費用対効果評価制度においても、QALY ショートフォール指標に基づく重症度補正の体系的導入を検討し、社会的受容性と効率性の両立を図るべきと考えられる。

A. 研究目的

本研究の目的は、QALY ショートフォール指標 (絶対的健康損失: Absolute Shortfall, AS、比例的健康損失: Proportional Shortfall, PS) を用いて医療技術の重症度を評価指標に反映させている海外の事例を調査し、その手法や費用対効果基準値の設定動向を明らかにするとともに、我が国への示唆を得ることである。

具体的には、ノルウェー、オランダ、イギリスにおける AS および PS を用いた優先順位設定・閾値設定の事例を整理

し、国内で費用対効果評価が行われた医薬品への AS・PS の適用可能性を評価する。さらに、重症度を考慮した評価手法が日本の費用対効果評価制度 (価格調整や償還の意思決定) に与える政策的意義を検討する。

日本では 2019 年度より費用対効果評価制度が導入され、現行では抗がん剤および適応症の一部に指定難病に対する治療のみに用いるもの、血友病又は HIV 感染症を対象とする品目、日本における小児用法・用量承認が取得されている品目については基準値を 500 万円/QALY から

750 万円/QALY に緩和している。しかし、諸外国の動向を踏まえれば将来的に重症度要素を考慮することも検討する必要がある。重症度に応じた評価は、高額な医薬品・医療機器等の医療技術の価値を正當に評価し、医療資源配分の公平性（特により重症な患者への優先度付け）に資する可能性があるため、その有用性と課題を明らかにすることが政策的にも重要である。

B. 研究方法

本研究では、まず海外における QALY ショートフォール指標の活用事例について文献調査を行った。調査対象国は、ショートフォール指標を用いているノルウェー、オランダ、イギリス（イングランド）であり、各国の HTA（Health Technology Assessment）関連機関（ノルウェー保健省、オランダ医療研究所 Zorginstituut Nederland (ZIN)、英国 NICE）の公開資料を収集するとともに、PubMed 等で各国の重症度指標導入に関する論文を検索し、特に費用対効果の閾値設定に AS や PS を採用した経緯とその運用方法について情報の収集を行った。

次に、日本への応用可能性を検討するため、国内で費用対効果評価の対象品目として選定された医薬品・医療機器を対象に、AS および PS を算出した。中医協で評価対象となり 2025 年 3 月までに分

析が終了した医薬品・医療機器の資料より、各技術の対象患者の平均または中央値年齢、男女割合、および既存の標準治療下における予後（QALY）に関するデータを抽出した。その上で、日本人一般集団における該当年齢・性別の期待 QALY（QALE: quality-adjusted life expectancy）を推定した。具体的には、厚生労働省の生命表（令和 5 年度簡易生命表）や国内の EQ-5D 標準値に関する研究(Shiroiwa et al. 2021)を参考に、該当年齢における男女別の QALE を算出し、患者集団の男女比で加重平均して「一般人の QALE」とした。なお、0-15 歳の QOL 値は 1.00、90 歳以上の QOL 値は 80-89 歳と同じ値とした。

次に、各技術の評価資料から比較対照治療下での患者の QALE を収集した。この値を「当該疾患の標準治療により得られる QALE」とみなし、一般人の QALE との差を AS とした。また AS を一般人の QALE で割った割合を PS とした。

算出にあたっては年率 2%での割引を適用し、将来の QALY は現在価値に換算した。

（倫理面への配慮）

公表資料や文献に基づく研究であり、倫理面での問題はない。

C. 研究結果

1. 海外における QALY ショートフォール

指標と閾値設定

(1) ノルウェー

ノルウェーでは、医療における優先順位設定の文脈で疾病の重症度を定量評価するための指標として AS が採用されている。2015 年にノルウェー政府のワーキンググループ報告書において複数の重症度指標が検討され、出生時からの累積 QALY 損失や残存 QALY (QALE) などと並び、PS も候補に挙げたが、PS については「40 年の健康余命のうち 20 年を失う場合と、2 年の余命のうち 1 年を失う場合は、どちらも割合では 0.5 になるが前者の方が深刻である」との理由で不採用となり、最終的に AS が最も重症度を適切に反映すると判断された。

2016 年にこの方針が政府白書として承認され、AS に応じて許容される費用対効果比に差をつける制度が正式導入された。具体的には、「健康な状態で得られたはずの将来 QALY」をどれだけ失うかにより重症度を 3 段階程度に分類し、重症度が高い (AS 値が大きい) ほどより高い増分費用効果比 (高い ICER 閾値) を許容する。

ノルウェー当局は従来目安とされていた一律の閾値 50 万ノルウェークローネ (約 678 万円/QALY) を廃し、AS に応じた段階的閾値を設定している。公開情報によれば、AS が小さい疾患では約 275,000 NOK/QALY (約 373 万円/QALY)

を目安とし、AS が極めて大きい重症疾患では最大 825,000 NOK/QALY (約 1,119 万円/QALY) 程度まで受容し得る柔軟な運用となっている。

(2) オランダの事例

オランダでは、医療資源配分の意味決定における医療の必要性の指標として PS が用いられている。この背景には、「誰もが健康寿命を十分得る権利がある (Fair innings)」という価値観と、将来健康の欠如に着目する考え方

(Prospective health) が組み合わさった独自の倫理観がある。PS は残存健康寿命に対してどの程度の割合の健康を失うかを示す指標であり、患者が抱える疾病負担 (Burden of Illness) を定量化するものと位置づけられている。

オランダ医療保険審査機関 ZIN は 2015 年の報告書「Cost-effectiveness in practice」において PS に基づき 3 区分の費用対効果基準値を提案し、2018 年の報告書「Ziektelast in de praktijk (疾病負担の実際)」でその考え方を具体化した。

現在オランダでは公式に重症度区分ごとの閾値レンジが運用されており、「PS 0.1 未満」を低疾病負担として保険償還せず、「PS 0.1~0.4」を中程度、「PS 0.41~0.7」を高、「PS 0.71 以上」を非常に高い疾病負担と定義し、それぞれ€

20,000/QALY (約 324 万円/QALY)、€ 50,000/QALY (約 810 万円/QALY)、€ 80,000/QALY (約 1,296 万円/QALY) を許容する差別化が明記されている。

(3) イギリスの事例

イギリス (イングランド) の NICE では長年 £20,000-30,000/QALY を目安とした費用対効果閾値とあわせて終末期 (End-of-life) 特例を用いてきたが、2022 年のガイドライン改訂により severity modifier と呼ばれる調整係数を導入し、重症度に応じて QALY に重み付けを行う新たな仕組みに移行した。具体的には、評価対象の疾患について AS と PS の両方を算出し、AS と PS の重症度をそれぞれ 3 段階に区分し、より重症度レベルが高い方の指標に基づいて QALY の重み (weight) を決定する。

・重み 1 (通常の評価) : PS < 0.85 か
つ AS < 12 QALY

・重み 1.2 (中重度) : PS が 0.85 以上
0.95 未満 または AS が 12 以上 18 未満
の範囲に入る場合

・重み 1.7 (高度重症) : PS ≥ 0.95 ま
たは AS ≥ 18 QALY の場合

2. 日本の医薬品・医療機器におけるショートフォール算出

日本で費用対効果評価の品目として選定され 2025 年 3 月までに分析が終了し

た医薬品・医療機器について、AS と PS を試算した。

企業分析では 36 件がショートフォールを算出可能であった。図 1 に企業分析に基づき算出した AS と PS を示した。公的分析では 28 件がショートフォールを算出可能であった。図 2 に公的分析に基づき算出した AS と PS を示した。日本において配慮を要する品目は概ね AS や PS が大きい傾向にあったが、一部例外も認められた。

分析の一例として、ロペグインターフェロンアルファ-2b (ベスレミ) を挙げる。この薬剤は骨髄増殖性疾患 (真性多血症など) の治療薬で、費用対効果評価の再評価対象となった。細胞減少療法を必要とする患者で既存の細胞減少療法の治療歴がない患者における年齢中央値は 58 歳、性別は男性 49.97%であった。58 歳の日本人一般集団における QALE は男性 17.592、女性 19.913 であり、男女比を考慮すると約 18.753 QALY と推計された。

公的分析では、比較対照治療における患者の QALE は 10.388 QALY と見積もられていた。この場合、AS は $18.753 - 10.388 = 8.365$ QALY と計算され、健康であれば得られたはずの QALY を約 8.365 失うことを意味する。PS は $8.365 / 18.753 \approx 0.446$ (44.6%) であり、将来健康の約 45%が失われる重症度であるこ

とを示す。

同様に企業分析について計算を行うと、比較対照治療における患者の QALE は 8.862 であることから、AS=9.891、PS=52.7%と算出された。

D. 考察

欧州 3 カ国の事例を概観すると、ノルウェーは AS 主義、オランダは PS 主義、英国は AS・PS 併用という違いがある。いずれの国も重症度の高い疾患にはより高い費用対効果閾値（支払い意思額）を認める点では共通しており、背景には「より重篤な疾病の患者を優先すべき」という社会的価値観への配慮がある。

各国の閾値水準を見ると、重症度が最高レベルの場合には通常の 1.7~4 倍程度のコスト/QALY を容認している（オランダの最高€80,000 は最低€20,000 の 4 倍、ノルウェーの最高 825,000 NOK は最低 275,000 NOK の 3 倍、英国の重みは最高 1.7 倍）。したがって「重症度を考慮すると費用対効果基準が数倍まで緩和され得る」ことを示している。

ノルウェーでは、優先順位設定に際し考慮すべき要素から年齢や希少疾患か否かといった因子は排除され、重症度 AS そのものに集約しているが、高齢の場合には AS 値が大きくなることから、実質的に若年者優先になっているものと考えられる。一方、オランダのアプローチ

では患者の年齢が高く残存寿命が短いケースほど PS が高く出やすいため、高齢者や末期患者の疾患を相対的に厚遇し、「人生の最終段階にいる患者にも配慮する（Rule of rescue 的な考え）」ことを重視した制度設計と言えるかもしれない。

イギリスでは AS と PS の両指標を併用することで、若年患者が多い疾患（AS が大きくなる）と高齢終末期の疾患（PS が大きくなる）の両方を重症度が高いとみなしうる柔軟な設計にしている。この新手法により公平性の向上が図られていると考えられるが、一方で英国製薬工業協会（ABPI）は「依然として深刻疾患の価値が十分評価されていない可能性がある」と指摘しており、制度の検証が必要と考えられる。

日本の分析事例で QALY ショートフォールを算出したところ、日本の費用対効果評価における「配慮あり」判断と概ね整合的であり、これをショートフォール指標に基づく体系的ルールに置き換えることは妥当かつ可能と思われる。QALY ショートフォールを導入することにより、重症度補正は「健康損失が大きい患者（重症患者）ほど一単位の効果に高い価値を認める」という垂直的公平性に関する倫理原則を制度的に実現することができる。Norheim らの提唱する「深刻度に応じた優先順位付け」の考えにも沿うもの

で、限られた医療資源の配分に社会的合意を得やすくなると考えられる。また、これは「命を救う薬」や「障害を大きく軽減する治療」への配慮を手厚くし、革新的新薬の開発インセンティブを保つ効果も期待される。

一方で、導入にあたっての課題についても検討が必要である。特に、健康人の QALE の算出に用いる QOL 値と、費用対効果評価の比較対照薬の QALE 算出に用いる QOL 値の測定法や出典が異なる場合、AS や PS の算出を適切に行うことができないことに留意する必要がある。

E. 結論

QALY ショートフォール指標 (AS および PS) は、医療技術の重症度を定量的に評価し、患者の健康損失の大きさに応じた費用対効果評価の基準調整を可能とする有力なツールである。

本研究では、日本で費用対効果評価が実施された複数の医薬品について AS および PS を試算し、NICE などの国際的な重症度補正基準と照合することで、日本の「配慮あり」判断が多く事例で重症度に基づく合理的対応と一致していることを明らかにした。特に、小児や希少疾患、終末期がん等においては、PS が 0.9 以上、AS が 20 以上となる品目もあり、重症度に応じた ICER 閾値の緩和は倫理的・実務的に妥当と考えられる。

重症度補正の導入は、意思決定の透明性と予見可能性の向上、垂直的公平性の担保、革新的医薬品へのアクセス確保に寄与しうる。

今後、日本の費用対効果評価制度においても、ショートフォール指標に基づく重症度補正の体系的導入を検討し、社会的受容性と効率性の両立を図るべきと考えられる。

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

シンポジウム 費用対効果評価の新たな展開に向けて、第 62 回日本医療・病院管理学会 (2024 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、Shiroiwa T, et al. Japanese Population Norms of EQ-5D-5L and Health Utilities Index Mark 3: Disutility Catalog by Disease and Symptom in Community Settings. Value Health 2021:

- 24(8): 1193-1202
- 2、 Ottersen T, et al. "Severity of illness and priority setting in Norway" (Report from working group, 2015)
 - 3、 Norwegian Medical Products Agency. Submission Guidelines For Single Technology Assessment of Medicinal Products. 2024.
<https://www.dmp.no/globalassets/documents/offentlig-finansiering-og-pris/dokumentasjon-til-metodevurdering/submission-guidelines-april2024.pdf>
 - 4、 Zorginstituut Nederland. "Cost-effectiveness in practice" (2015)
 - 5、 Zorginstituut Nederland. "Ziektelast in de praktijk" (2018)
 - 6、 NICE: NICE health technology evaluations: the manual. Last updated: 31 October 2023.
<https://www.nice.org.uk/process/pmg36/chapter/introduction-to-health-technology-evaluation>
 - 7、 van de Wetering EJ, et al. Balancing equity and efficiency in the Dutch basic benefits package using the principle of proportional shortfall. Eur J Health Econ. 2013;14(1):107-15.
 - 8、 Reckers-Droog VT, et al. Looking back and moving forward: On the application of proportional shortfall in healthcare priority setting in the Netherlands. Health Policy. 2018;122(6):621-629.
 - 9、 McCabe C, et al. "NICE's severity modifier: a step in the right direction" (OHE Briefing, 2022)
 - 10、 Hayes H, et al. Understanding societal preferences for priority by disease severity in England & Wales. OHE Contract Research Report, London: Office of Health Economics. 2024.
<https://www.ohe.org/publications/understanding-societal-preferences-for-priority-by-disease-severity-in-england-wales/>

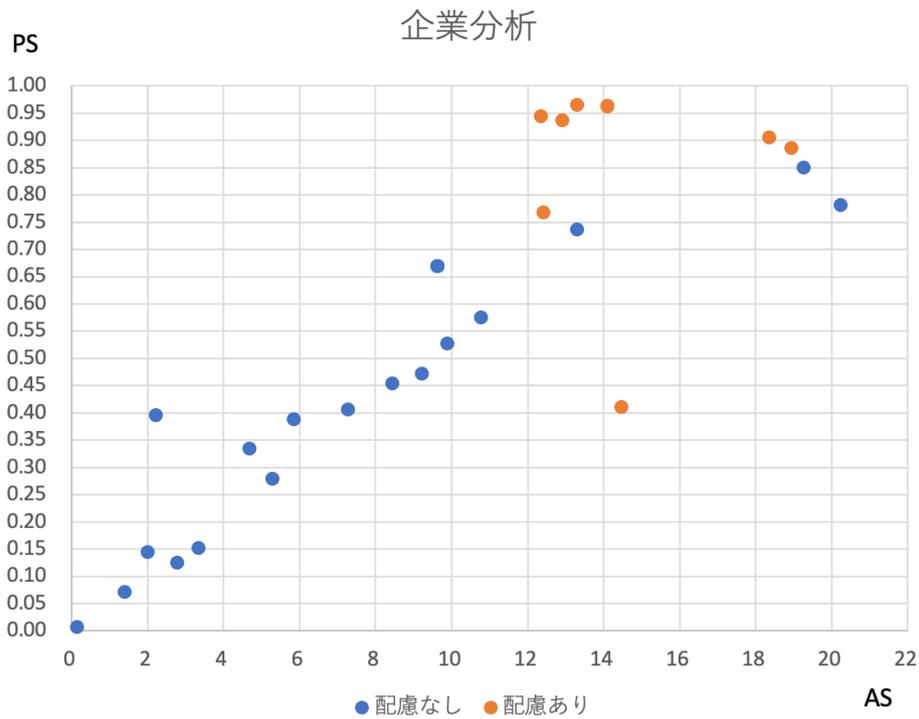


図1 AS と PS の算出結果（企業分析のデータに基づく）

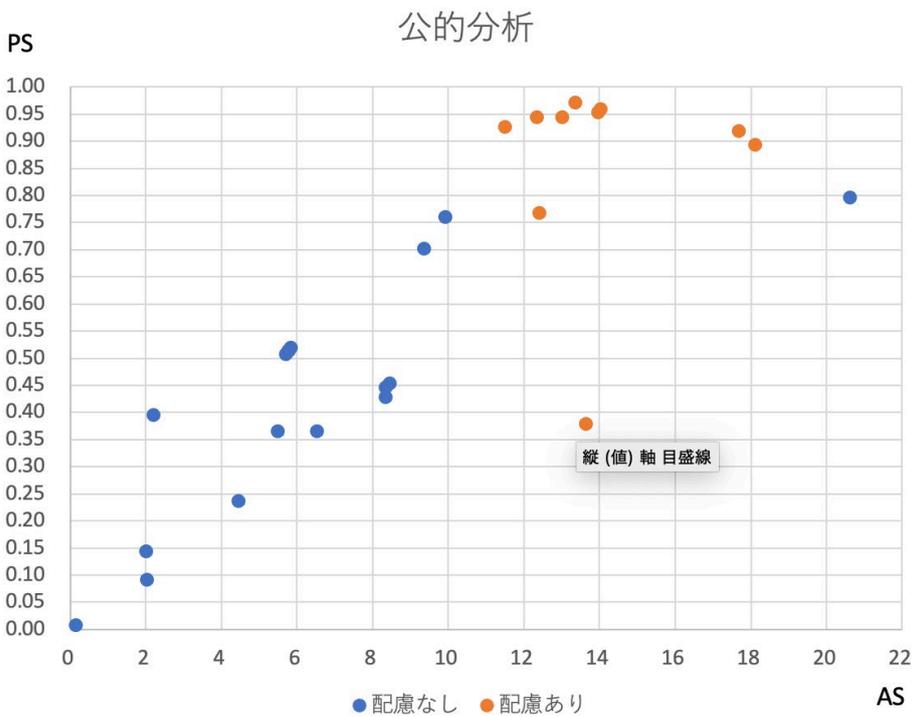


図2 AS と PS の算出結果（公的分析のデータに基づく）

令和6年度厚生労働行政推進調査事業費補助金 政策科学総合研究事業
分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に
関する研究
分担研究報告書

海外主要国における医療技術評価方法における代替エンドポイントの取り扱いの概要

研究分担者 石田 博
一般財団法人 淳風会 淳風会 健康管理センター

抄録：医療技術の有効性評価において重要な患者関連エンドポイントに代わる代替エンドポイントの取扱いの現状について海外主要国の医療技術評価(HTA)機関の評価方法ガイドライン、あるいはマニュアルとその関連の文書等を中心に調査、確認した。その結果、今回の対象 HTA 機関のガイドラインにおいて代替エンドポイントについての取扱いに関する規定、あるいは、方針が定められていたが、その内容は、その詳細さも含めて様々であった。特に妥当性の検証方法やその閾値においては一貫したコンセンサスが得られている状況ではなく、今後の我が国における費用対効果評価の分析ガイドラインへの採り入れの検討がなされる際にはこれらの方法の確立が最も重要と考えられた。

緒言：

我が国を含む諸外国の医薬品規制機関においては、新薬等の新しい医療技術の申請に対し臨床試験による有効性等の結果をもとに承認や薬価の決定がなされる。しかし、画期的な薬剤や有効な従来薬がない疾患などにおいては、新たな薬剤の登場に対する期待から迅速な承認が望まれる場合が少なくない。その際に死亡率などの最終的な本来の意味ある患者関連アウトカム(patient-relevant endpoint: PEp)における有効性の確認には長期に渡る臨床試験等の結果を待つ必要がある。そのため、アメリカの Food and Drug Administration(FDA)など、多くの医薬品規制機関において本来の有効性指標の結果を予測可能な比較的短期間、あるいは、容易に取得できる代替エンドポイント(surrogate endpoint: SEp)による結果を基にした迅速な早期承認を可能としている。

他方、HTA においても当該技術の本来の有効性に関するエビデンスを欠いた状況での SEp をもとに医療技術評価、特に費用対効果分析を行う際に SEp の結果から最終的な PEp を予測することが必要となる。そのため、SEp の妥当性、特に、PEp に対する医療技術の有効性における予測性が重要であり、その評価が欠かせない。今後、我が国においても、そのような早期承認の医薬品の医療技術評価を行う際の SEp の取扱いについての枠組みの構築を検

討することが重要と考えられる。そこで、規制機関であるアメリカ FDA、および、先行の国際的レビューにより SEp の詳細な取扱いを策定している主要 HTA 機関のガイドラインにおける SEp に関する記載を中心にその内容の確認を行った。

方法：

1. FDA (US)・National Institute for Care and Excellence(NICE, UK) における SEp の具体的な取扱いの現状について

海外医薬品規制機関の代表的機関である FDA、および、HTA の代表的機関である NICE における SEp の具体的な活用状況について最近の論文をもとに確認を行った。

2. HTA ガイドラインにおける SEp の取扱いの記載についての調査

Grigore らの先行調査(1)を元に NICE、Institute for Medical Documentation and Information and Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG, ドイツ)、Agency for Drugs and Technologies in Health (CAD-AMC, カナダ)、Pharmaceutical Benefits Advisory Committee(PBAC, オーストラリア)および、Haute Autorité de Santé (HAS, フランス)における医療技術評価ガイドライン、あるいはマニュアル及び、European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA, EU)の「相対的有効性評価に使用されるエンドポイント：代替エンドポイント」ガイドライン、それらに直接、関連する文書での SEp について各々の最新版を中心に以下の調査項目(1~5)の内容について調査、確認を行った。なお、EUnetHTA は 2024 年にて閉鎖となり、それを引き継ぐ形の EU の新しい医療技術評価規則 (HTAR : Regulation (EU) 2021/2282) による共同臨床評価 (Joint Clinical Assessment: JCA) のアウトカムに関するガイダンスが EU の HTA coordination group (HTACG)から提示されており、それも対象に含めた。(文末に調査対象とした各 HTA 機関でガイドライン、関連文書一覧を示す。)

調査項目：

1. 定義/活用背景、2. 受け入れ要件、3. エビデンスレベルについての考慮、4. 妥当性・予測能の検証方法と妥当性評価の閾値、5. 妥当性評価結果の他ケースへの適用性、6. 費用対効果分析における考慮点

結果：

1. 規制機関における SEp の扱い

FDA においては、法律で「医薬品または生物学的製剤の承認または認可(該当する場合)の根拠となった代替エンドポイント」のリストを迅速承認規定および従来の承認規定の両方に基づいて公表することが義務付けられており、成人の癌、非癌疾患、お

よび、小児の癌、非癌疾患に対する SEP は、2024 年 12 月の時点での一覧¹ではそれぞれ、19、127、6、75 の合計 227 項目であった。その内、迅速承認対象（通常承認併用を含む）が 48 項目であった。表 1 に FDA におけるエンドポイントに関連する用語の定義、また、表 2 にその代表的な項目を例示した。

2. HTA 機関ガイドラインにおける SEp の取扱い

主要 5 カ国の HTA 機関、および、および EUnetHTA、EU HTACG の文書における SEp の取扱いに関わる各項目の記載の有無は表 3 のようにまとめられた。以下、各項目の記載内容についての状況を示す。

#1 HTA 機関における SEp の定義（表 4）

EUnetHTA の相対的有効性評価(Relative Effectiveness Assessment)のエンドポイントに関するガイドラインには、SEp、バイオマーカー、および、中間エンドポイントについて各々定義されている。NICE や IQWiG ではその主たるガイダンスには明確な定義は言及されていなかったが、関連文書（NICE TSD 13²）や簡単な概要的説明の記載により SEp に対する理解を補っていた。各 HTA の定義には若干の違いを認めているものの、基本的には臨床的に意味のある患者関連のエンドポイントに対する介入効果を予測可能とするバイオマーカー等のエンドポイントの概念に収束するものであった。なお、FDA においては、規制当局として承認を可能とする裏付けとなるものと定義していた。

#2 代替エンドポイントの受け入れに関する記述（表 5）

内容はその詳細さにおいてそれぞれ様々であるが、多くの HTA 機関のガイドライン等では最終的な PEp のエビデンスが優先されること、また、その具体的な PEp のエビデンスがない場合に SEp の受け入れを考慮し、その際の条件としてその PEp との関連性や予測性についての実証的なエビデンスを求めること、あるいは、その正当性を示すことを原則とした記述がなされていた。

#3 エビデンスレベルについての考慮(表 6)

SEp と最終の PEp との間関係性の検証におけるエビデンスについては、HAS、IQWiG 以外の機関でそのレベルの記載を認めた。その中で、EUnetHTA、および、それを引き継ぐ形での HTACG、NICE では、3 つのレベルの評価の分類(レベル 1: 複数の無作為化対照試験 (RCT) のメタアナリシスによる SEp に対する効果と PEp との間の相関の確立、レベル 2: 疫学研究、あるいは観察研究による SEp と PEp との一貫した関連性の実証、レベル 3: SEp と PEp との関係について、生物学的 (病態生理学的研究、及び/又は疾患プロセスの

¹ <https://www.fda.gov/drugs/development-resources/table-surrogate-endpoints-were-basis-drug-approval-or-licensure>

² TSD 13: Identifying and reviewing evidence to inform the conceptualisation and population of cost-effectiveness models (<https://www.sheffield.ac.uk/media/34222/download?attachment?attachment>)

理解によるもの)に妥当であることを示す証拠))が採用されていた。同様にPBACにおいても、ガイドラインのAppendix(Translating comparative treatment effects of proposed surrogate measures to target clinical outcomes)の中で、生物学的、疫学的エビデンスとともに、特に無作為化試験でのエビデンスについてのメタアナリシスや代替閾値効果などの具体的な方法と提示など、3つのレベル別の記述がなされていた。これらはいずれも複数のRCTによる医療技術の効果の検証、すなわち、SEpを改善する医療技術がPEpも改善することを示すエビデンスがより重要とする枠組みを示すものであった。

#4 妥当性・予測能の評価方法と妥当性評価の閾値(表7-1、2)

SEpの妥当性やSEpに対する効果からのPEpに対する効果の予測能に関する評価法に関する内容を表7にまとめたが、それぞれの機関における内容は詳細さの程度を含め、様々な状況であった。

具体的にはSepとPEpの結果の相関や予測能に関して複数のRCTを用いたメタ解析による評価を求めるものが多かった。特に、NICEでは関連文書であるTSD20³やCHTE2020⁴において二変量メタ解析(BRMA)や多変量回帰分析(MRMA)によるSEpの妥当性(相関と予測精度)の評価について実証的、統計的な枠組みを記していた。一方、IQWiGにおいてはその付録文書を含めて、詳細な統計的な評価枠組みが記され、メタ解析対象の論文の信頼性を(高い、限定的、中等度、低い)に分類し、その分類と回帰係数の信頼区間と閾値との関係、さらには、代替閾値効果(Surrogate Threshold Effect: STE)による妥当性の区分によるPEpの介入効果の確からしさを示すアルゴリズムが示されている(表8)。この中では、相関係数による相関の強さ(例えば、相関係数の信頼区間下限が0.85以上であれば強いなど)などの閾値が提示されている。さらに、PBACでは生物学的、および疫学的エビデンスに沿った複数の無作為化試験データをもとにしたメタ分析による代替エンドポイント(PSM)と最終効果指標であるTCO(total clinical outcome)に対する効果の関係性の確認、および、その比較治療効果の95%信頼区間を含めた推定について言及されていた。これによりPSMからTCOへの変換の正当性が示されることになる。

#5 妥当性評価結果の他のケースへの適用性(表9)

具体的な記載のなかったHASおよびCDA-AMCを除くHTA機関のガイドラインや関連文書に記載があり、いずれも、代替エンドポイントの妥当性エビデンスについては、疾患や病期、あるいは、対象集団やセッティング、薬剤等の介入技術の違いがある場合に、既存の検証結果が活用できるかの検討が重要であること、また、そのエビデンスの他の領域や技術等への外挿や移植には異質性解析を行うなど慎重であるべきことなどが記述されていた。

#6 費用対効果分析における考慮点(表10-1、2)

³ Multivariate meta-analysis of summary data for combining treatment effects on correlated outcomes and evaluating surrogate endpoints

⁴ CHTE2020 sources and synthesis of evidence

費用対効果モデルの構築やその分析における考慮点としては、モデルのアウトカムである最終的な期待生存年などの PE_p の推定に SE_p に対する介入効果のデータを活用することになるため、NICE、HAS、CDC-AMC、および PBAC では SE_p から PE_p への変換における不確実性について感度分析やシナリオ分析などを加える必要性が具体的に記載されている。それ以外の HTA 機関の記述においてもほとんどの SE_p の不確実性の定量化の必要性やパラメータの不確実性に対する感度分析の実施など、同様の対応が求められる記載であった。

考察：

1. SE_p の活用状況

FDA や PMDA のような規制当局においては一定の SE_p の結果を元に医薬品の承認がなされることが多く、また、海外の HTA 機関においてもその勧告に関わる情報を提供するために使用することが増えている。また、我が国においても、がん領域の治療薬の承認において生存率（OS）が用いられることが多くなったとは言え、2016 年～2020 年における承認 135 件の 66% に奏効率などの SE_p が用いられている状況であり(2)、今後も血液がんや希少疾患に関わる医薬品などをベースとして今後の迅速承認による患者アクセスの改善に向けて増加することが予測される。

一方、急性心筋梗塞に併発した心室性不整脈による突然死の予防を目的とした抗不整脈薬(Flecainide, Encainide)の効果を検証し、実薬群の死亡率増加により試験が中止となった CAST 研究(3)などによって明らかになった SE_p の surrogate paradox のリスクを評価することが必須である(4)。そのため、SE_p を用いた臨床研究においては候補とする SE_p が本来の PE_p に対する治療効果を予測可能かの評価が重要である。しかし、2024 年末の FDA の医薬品の承認審査で対象としている代替エンドポイントのうち、成人の非腫瘍性疾患においてその臨床的アウトカムとの高い相関をメタ解析で示されたものは少ないことが示されている。また、NICE におけるがん領域での医療技術評価の調査においても、37 件の SE_p に対する検討でも最終エンドポイントとの関連性の強さの評価を明示的に行われたのは 6 件の SE_p のみで、治療における SE_p と PE_p の関係性評価が定量的に検討されたのは 2 件のみと HTA 機関においても十分な評価がされていない同様の状況が報告されている(6)。

2. 医療技術評価マニュアル等における SE_p の取り扱い

NICE など HTA 機関が新たな医薬品等の推奨を行う際に、SE_p は、がん・非がんの領域を問わず、頻繁に使用され広く受け入れられている。HTA における SE_p の取り扱いに関する明確なガイダンスの導入は、SE_p を主たる効果データとして申請した医療技術に対して一貫したアプローチを確保し、その意思決定における不確実性を減らし、新しい治療への公平なアクセスを可能にするものである(7)。

今回の SE_p についての取扱いの調査は、先行研究にあたる Grigore B.らの Review(5)をもとに、HTA の方法論ガイドラインの中で詳細な SE_p の取扱いに関する記載がある主要な HTA 機関のそれぞれの最新版を対象として行ったが、これらの HTA 機関における記載内容

に、この調査の間には明らかな変更や追加等はないと考えられた。

今回の調査結果では、各 HTA における内容を抽出し、比較する形で提示したが、それぞれの項目において、記載内容は様々であり、一貫性に欠くものであった。その中で、SEp に対する受け入れ要件やその妥当性の検証のあり方については、すべての機関において網羅されていたが、その詳細はそれぞれ異なるものであった。特に、SEp の妥当性、正当性といった観点での記載においては、レベル 1 エビデンスとして RCT を元にした医療技術の SEp に対する効果が最終的な PEP の治療効果との相関性や予測能を示すことの必要性に関する記載は共通のものであった。その中で、IQWiG のマニュアル、および関連文書において図 8 に示すような研究の信頼性に基づいて妥当性のカテゴリーを判断する相関性の範囲区分、ならびに、PEp に非ゼロの治療効果を予測するために必要な SEp 上の治療効果の最小値となる代替閾値効果 (Surrogate threshold effect: STE) (8) について最も詳しく示されていたが、他の HTA 機関の内容との統一的なコンセンサスには至っていないと考えられた。

一方、妥当性のある SEp であることを前提として SEp を費用対効果分析モデル構築に活用する際の考慮点についても多くの HTA 機関で記述されており、SEp の妥当性の検証過程で求められた推定の信頼区間をもとに確率的感度分析、さらにはシナリオ分析といった分析を追加してその不確実性を明らかにすることが求められていた。モデル自体の妥当性の検証とともに SEp の推定に伴う不確実性への対応は費用対効果分析における重要なプロセスである。

3. 今後の課題

SEp は最終的な PEP に対する治療効果がどの程度、相関し、SEp における改善が PEP の改善をどの程度、予測できるか等によつての妥当性評価が重要である。多くの HTA 機関では、複数の臨床試験によるメタ解析による 2 つのエンドポイント間の相関性や治療効果の予測性によって評価している。これらの統計学的な妥当性の評価に対して、NICE の関連文書 (TSD20、CHTE2020) では多変量メタ解析を中心とした手法が詳細に紹介され、技術的な支援がなされているが、他にも Prentice の代替性基準やそれを拡張したアプローチ、因果推論のパラダイムによるアプローチなどもある。メタ解析によるアプローチの短所である複数の臨床研究からのデータを必要とすること、また、代替性の質の評価が困難であることなど(4)もあり、今後、メタ解析を中心としてそれらの統計学的な評価法の整理とそのガイダンスの提示は有用と考えられる。

また、Radu P らが行った台湾やシンガポールを含む 14 の HTA 機関における調査においても、傾向として多くの HTA 機関の代替エンドポイントを受け入れるためのガイドラインがより明確になってきているとしている。しかし、SEp と PEP との明確な関連性について明確に正当化することが求められてはいるものの、その妥当性評価については、今回の調査でも統一的なコンセンサスには至っていない状況と考えられた。今後、我が国においても既存の公的な費用対効果評価の内容を踏まえたガイドライン整備が望まれる。

最後に、今回の調査と並行し、NICE の主導による NICE が主導し、CDA-AMC、アメリ

カ ICER (The Institute for Clinical and Economic Review) などの6つの機関の Working Group によりまとめられた White Paper が 2025 年 1 月に発表された(9)。この中では、FDA や EMA(European Medical Association)などの規制当局の SEp に対する規制基準に加え、同様に HTA 機関のガイドラインについての Grigore らの研究と同様の調査項目に加え、メタ解析を含む統計手法の全般的な内容が補足資料としてまとめられている。同報告書の内容は、今回の調査に参考となるものであり、重複する内容が含まれていることを申し添える。

結語：

国外の主要な HTA 機関の医療技術評価ガイドラインや関連文書による新たな医療介入等の医療技術評価における SEp の取扱いについて現状の調査を行った。対象とした全ての HTA 機関において、SEp の受け入れ要件、および妥当性の評価の記載が確認されたが、統一的な一貫したガイダンスには至っていない状況であった。その中で、特に、妥当性評価については、複数の RCT によるメタ解析による医療技術の SEp に対する効果が最終的な PEp の効果を予測可能であることを定量的に示すことが現状での一般的な要件となっており、今後、我が国においても SEp の取扱いと妥当性評価に関する検討が必要と考えられた。

<文献>

1. Grigore B, Ciani O, Dams F, Federici C, de Groot S, Möllenkamp M, et al. Surrogate Endpoints in Health Technology Assessment: An International Review of Methodological Guidelines. *Pharmacoeconomics*. 2020;38(10):1055-70.
2. Maeda H, Shingai R, Takeda K, Hara A, Murai Y, Ofuchi M. Assessment of Surrogate End Point Trends in Clinical Trials to Approve Oncology Drugs From 2001 to 2020 in Japan. *JAMA Netw Open*. 2023;6(4):e238875.
3. Echt DS, Liebson PR, Mitchell LB, Peters RW, Obias-Manno D, Barker AH, et al. Mortality and morbidity in patients receiving encainide, flecainide, or placebo. The Cardiac Arrhythmia Suppression Trial. *N Engl J Med*. 1991;324(12):781-8.
4. Elliott MR. Surrogate Endpoints in Clinical Trials. *Annual Review of Statistics and Its Application* 2023;10:75-96.
5. Wallach JD, Yoon S, Doernberg H, Glick LR, Ciani O, Taylor RS, et al. Associations Between Surrogate Markers and Clinical Outcomes for Nononcologic Chronic Disease Treatments. *Jama*. 2024;331(19):1646-54.
6. Wheaton L, Bujkiewicz S. Use of surrogate endpoints in health technology assessment: a review of selected NICE technology appraisals in oncology. *Int J Technol Assess Health Care*. 2025;41(1):e11.
7. Heptinstall A AE. SURROGATE ENDPOINTS USED IN NICE TECHNOLOGY APPRAISALS FOR ONCOLOGY AND NON-ONCOLOGY INDICATIONS, 2022–23 VALUE IN HEALTH. 2023;26(12):S331.

8. Burzykowski T, Buyse M. Surrogate threshold effect: an alternative measure for meta-analytic surrogate endpoint validation. Pharm Stat. 2006;5(3):173-86.
9. collaboration I. Surrogate endpoints in cost-effectiveness analysis for use in health technology assessment. 2025.

研究発表

なし

知的財産権の出願・登録状況

なし

<調査対象とした各 HTA 機関でガイドライン、関連文書一覧>

EuNetHTA :

- Endpoints used in Relative Effectiveness Assessment: Surrogate Endpoints (2015) (2025 年より EUNetHTA の Web site はアクセス不可)

EU HTACG (Member State Coordination Group on HTA) :

- Procedural guidance for JCA medicinal products(2024)

https://health.ec.europa.eu/publications/procedural-guidance-jca-medicinal-products_en

NICE :

- NICE health technology evaluations: the manual (2022)

<https://www.nice.org.uk/process/pmg36>

- NICE DSU Technical support document 20: Multivariate meta-analysis of summary data for combining treatment effects on correlated outcomes and evaluating surrogate endpoints version 2(2019)

<https://www.sheffield.ac.uk/media/34200/download?attachment>

- CHTE2020 sources and synthesis of evidence; update to evidence synthesis methods (2020)

<https://www.sheffield.ac.uk/media/34043/download?attachment>

HAS :

- Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS(2020)

https://www.has-sante.fr/jcms/r_1499251/fr/choix-methodologiques-pour-l-evaluation-economique-a-la-has

- Transparency Committee doctrine Principles of medicinal product assessments and appraisal for reimbursement purposes (2020)

https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2019-07/doctrine_de_la_commission_de_la_transparence_-_version_anglaise.pdf

IQWiG:

- Allgemeine Methoden Version 7.0(2023)

https://www.iqwig.de/methoden/allgemeine-methoden_version-7-0.pdf

- Aussagekraft von Surrogatendpunkten in der Onkologie(2011)

https://www.iqwig.de/download/a10-05_rapid_report_surrogatendpunkte_in_der_onkologie.pdf

Canada's Drug Agency (CDA-AMG) :

- Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Canada 4th Edition(2017)

<https://www.cda->

[amc.ca/sites/default/files/pdf/guidelines_for_the_economic_evaluation_of_health_technologies_canada_4th_ed.pdf](https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/pdf/guidelines_for_the_economic_evaluation_of_health_technologies_canada_4th_ed.pdf)

- Addendum to CADTH's Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Specific Guidance for Oncology Products (2009)

https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/pdf/H0405_Guidance_for_Oncology_Products_gr_e.pdf

PBAC:

- **Guidelines for preparing a submission to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee version 5.0 (2016)**

<https://pbac.pbs.gov.au/content/information/files/pbac-guidelines-version-5.pdf>

- **Appendix 5 Translating comparative treatment effects of proposed surrogate measures to target clinical outcomes (2016)**

<https://pbac.pbs.gov.au/appendixes/appendix-5.html>

- **Report of the Surrogate to Final Outcome Working Group to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee: a framework for evaluating proposed surrogate measures and their use in submissions to PBAC (2008)**

<https://www.pbs.gov.au/industry/useful-resources/pbac-technical-working-groups-archive/surrogate-to-final-outcomes-working-group-report-2008.pdf>

表1 FDAによる医薬品および生物学的製剤開発のためのエンドポイント関連用語

<p>●臨床アウトカム (Clinical outcomes) :</p> <p>試験に参加した人々の気分や機能が改善されたか、あるいは寿命が延びたかを直接的に測定するもの。臨床アウトカム (例: 症状の改善) によって測定される治療の有益性、あるいは有益性の可能性が、いかなる副作用 (例: 薬剤性肝障害) を上回るかどうかを判断するために評価される</p>
<p>●代替エンドポイント (Surrogate endpoints)</p> <p>臨床アウトカム (例: 脳卒中など) を得るのに長期を要する、あるいは、その取得に倫理的な問題がある場合に、その改善 (血圧のコントロールなど) による臨床的有益性が十分に理解されている場合に用いられるもの。臨床アウトカムに代わり用いられるためには、疫学調査や臨床試験からの証拠を含め、広範な証拠の蓄積が求められ、通常、代替エンドポイントが使用状況における臨床的有益性を予測、または相関させる上で信頼できることを示すためには臨床試験が必要となる。</p> <p>米国規制当局の立場からは、代替エンドポイントと潜在的な代替エンドポイントは、臨床的検証のレベルによって特徴づけられる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・妥当性のある代替エンドポイント (validated surrogate endpoint) <p>明確な機序的根拠と代替エンドポイントに対する効果が特定の臨床上の便益を予測することを示す強力な証拠となる臨床データによって支持されるエンドポイント。妥当性が確認された代替エンドポイントは、臨床上の便益を直接実証するための追加試験を必要とせず、定義された状況において、医療用医薬品又はたばこ製品の販売承認を支持するために使用することができる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・合理的な可能性のある代替エンドポイント (Reasonably Likely Surrogate Endpoint) <p>臨床試験において、代替エンドポイントに及ぼす影響が、臨床上の有益性を評価するためのエンドポイントと相関することが期待されるが、有効な代替エンドポイントであることを示すのに十分な臨床データがないような、強力な機序学的及び/又は疫学的根拠に裏付けられたエンドポイント。このようなエンドポイントは、医薬品の早期承認に使用される可能性があり、医療機器の承認やクリアランスにも使用される可能性がある。医薬品の早期承認の場合、不可逆的な罹患率や死亡率、その他の臨床的利益に対する予想される効果を検証し、説明するために、市販後の確認試験が必要とされてきた。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・候補となる代替エンドポイント (candidate surrogate endpoint) <p>現在も評価中である臨床的有用性を予測する代替エンドポイント</p>
<p>●バイオマーカー</p> <p>正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、または曝露や介入 (治療介入を含む) に対する反応の指標として客観的に測定されるもので、代替エンドポイントの一部は、バイオマーカーの小分類に該当する。</p>

出典: FDA Web サイト BEST (Biomarkers, Endpoints, and other Tools) Resource

(<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK326791/>) から抜粋し翻訳

表 2. FDA による代替エンドポイント項目

疾患または用途	患者集団	代替エンドポイント	適切な承認のタイプ	薬剤の作用機序
成人の非癌疾患関連：127項目（以下、項目例）				
急性気管支痙攣	可逆性閉塞性気道疾患または運動に伴う急性気管支痙攣のある患者	努力性1秒量 (FEV ₁)	通常	β2アドレナリン作動
アルツハイマー病	アルツハイマー病の軽度認知障害または軽度認知症の患者	アミロイドβ斑の減少	迅速	モノクローナル抗体
筋萎縮性側索硬化症 (ALS)	スーパーオキシドジスムターゼ1 (SOD1) 遺伝子に変異を有するALSの成人患者	血漿中ニューロフィラメント軽鎖 (NFL) の変	迅速	アンチセンスオリゴヌクレオチド
貧血	慢性腎臓病 (CKD) による貧血患者	Hbの平均変化	通常	低酸素誘導因子プロリル水酸化酵素 (HIF PH) 阻害
慢性腎臓病	複数の病因による二次性慢性腎臓病患者	推算糸球体濾過量または血清クレアチニン	通常	機序不可知*
成人の癌関連：19項目（以下、項目例）				
がん：血液悪性腫瘍	急性骨髄性白血病および急性リンパ芽球性白血病患者	持続的完全寛解率	迅速/通常	機序不可知
がん：血液悪性腫瘍	急性リンパ芽球性白血病；骨髄異形成/骨髄増殖性疾患；慢性骨髄性白血病の患者	主な血液学的反応と細胞遺伝学的反応	迅速/通常	機序不可知
がん：血液悪性腫瘍	初回または2回目の完全寛解期にあるB細胞前駆体急性リンパ芽球性白血病患者；多発性骨髄腫	最小残存病変奏効率	迅速	機序不可知
がん：固形がん	乳がん患者；BCG非応答性非筋層浸潤性膀胱がん (NMIBC) 患者で非浸潤がん (CIS) を有する患者	完全寛解	迅速/通常	機序不可知
がん：固形がん	「乳がん、卵巣がん、腎細胞がん、膵神経内分泌がん、大腸がん等の患者	持続的客観的全奏効率 (ORR)	迅速/通常	機序不可知
がん：固形がん	「乳がん、腎細胞がん、膵神経内分泌腫瘍、軟部肉腫、卵巣がん、卵管がん等の患者	無増悪生存期間 (PFS)	迅速/通常	機序不可知
小児の非癌疾患関連：75項目（以下、項目例）				
軟骨無形成症	軟骨無形成症の患者	年率成長速度	迅速/通常	C型ナトリウム利尿ペプチド
末端肥大症	他の標準的治療に反応しない、あるいは受けられない末端肥大症「患者	血清インスリン様成長因子-I (IGF-1)	通常	成長ホルモン受容体拮抗作用
慢性移植片対宿主病	慢性移植片対宿主病(cGVHD)で1ライン以上の全身療法が無効の患者	全奏効率 (ORR)	通常	キナーゼ阻害剤 - プルトン型チロシンキナー
サイトメガロウイルス (CMV)	予防が必要なCMV血清陽性の造血移植レシピエント	血漿中CMV-DNAが治療開始の閾値を超える	通常	抗ウイルス剤
小児の癌疾患関連：6項目（以下、項目例）				
がん：血液悪性腫瘍	急性リンパ性白血病患者	血清アスパラギナーゼ	通常	アスパラギン特異的酵素
がん：固形がん	「亜独立巨細胞性星細胞腫を伴う結節性硬化症複合体、甲状腺がん、腫瘍変異負荷の高い固形がん、神経芽腫、BRAF融合または再配列を保有する低悪性度神経膠腫 (LGG) などの患者”	持続的客観的全奏効率 (ORR)	迅速/通常	機序不可知
がん：固形がん	転移性黒色腫患者	無増悪生存期間 (PFS)	迅速	機序不可知

*機序不可知(Mechanism agnostic)とは代替エンドポイントに関連する作用機序が多数あり、特定の因果経路に直接関係しない場合を指す。

出典：Table of Surrogate Endpoints That Were the Basis of Drug Approval or Licensure (<https://www.fda.gov/drugs/development-resources/table-surrogate-endpoints-were-basis-drug-approval-or-licensure>) の downloadable table より代表的な項目を抜粋し翻訳したもの

表 3 HTA 機関別の記載内容一覧

代替エンドポイントの記載項目	EUNetHTA	EU*	NICE	HAS	IQWiG	CDA-AMC	PBAC
定義(○) / 補足的説明 (△)	○	○	△	(用語集)	△	○	○
受け入れ要件	○	○	○	○	○	○	○
妥当性の検証方法の記載	○	○	○**	○	○***	○	○
基準 (カットオフ値) の記載	○ ¹	△	○ ¹	—	○***	—	—
エビデンスレベルの記載	○	○	○	—	— ²	—	○
検証結果の移植性	○	△	○	—	○	—	○
費用対効果モデル開発での管理	△	—	○	○	△ ³	○	○
不確実性：感度分析			PSA ⁴	○		PSA	○
シナリオ分析			○	○		○	○

*EU HTACG: Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024) より

**DSU Technical support document 20: Multivariate meta-analysis of summary data for combining treatment effects on correlated outcomes and evaluating surrogate endpoint(2019)

***Reports – Commission No. A10-05Validity of surrogate endpoints in oncology 2011.11.21

¹ IQWiGの閾値について引用

² 引用文献からの簡単な記載

³ 一般的な手法での記載のみ

⁴ probability sensitivity analysis

表4 代替エンドポイントの定義についての記載

機関	定義内容
FDA	臨床的有益性を直接測定するものではないが、臨床的有益性を予測することが知られており、医薬品または生物学的製剤の従来の承認を裏付けるために使用できるもの（出典: Table of Surrogate Endpoints That Were the Basis of Drug Approval or Licensure*より）
EUNetHTA	臨床試験で観察することができない臨床上的エンドポイントに代わることを意図したエンドポイントのことで、臨床効果を直接測定することが不可能または実用的でない状況において、効果を間接的に測定するための変数である。
EU**	特定の臨床研究で観察できない興味あるアウトカムを置き換えることを意図したアウトカムのことである。これは、患者を中心とした効果の直接測定が実行可能でない、または実用的でない状況において、効果の間接的な測定を提供する変数である
NICE	明確な定義記載なし「他のいわゆる真のエンドポイントの代わりに測定されたエンドポイント」と関連文書***に記載
HAS	（用語集）観察できない関心のある変数と相関がある観察された変数
IQWiG	明確な定義記載なし「患者に関連するエンドポイントの代替として通常は患者に関連する（追加的な）利益に関する結論をより早くより容易に得るために医学研究でしばしば用いられる」と記載 ¹
CDA-AMC	中間アウトカムのサブセットであり、「臨床的に意味のあるエンドポイントの代用として使用され、患者がどのように感じているか、機能しているか、生存しているかを直接測定する検査室測定値や身体的徴候」 ¹ 代替アウトカムは、臨床試験において患者の嗜好、機能、生存の直接測定の代替として用いられる。目的のパラメータに関するデータがない場合、代替アウトカムは、比較される介入に関連する有効性や有害性を予測することを意図している。
PBAC	1つ以上の目的臨床アウトカム（target clinical outcome :TCO）の代替となることを意図したバイオマーカーである。

*<https://www.fda.gov/drugs/development-resources/table-surrogate-endpoints-were-basis-drug-approval-or-licensure>

**Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024)より

*** DSU Technical Support Document 13: Identifying And Reviewing Evidence to Inform the Conceptualisation and Population of Cost-Effectiveness Models(2011)

¹. Aussagekraft von Surrogatendpunkten in der Onkologie Rapid Report version:1.1

表5 代替エンドポイントの受け入れに関する記載

HTA機関	受け入れ要件についての記載
EUNetHTA	<ul style="list-style-type: none"> ・ REAの実施における初回評価及び再評価のいずれにおいても、最終的な臨床エンドポイントが望ましい。 ・ 代替エンドポイントと最終的なREA関連臨床エンドポイントとの関係の妥当性が以前に明確に確立され、すべての検証段階に関するデータが提供されていれば、代替エンドポイントを評価に用いることが可能
EU*	<p>3.3.1一般的な考慮事項</p> <p>死亡率、罹患率、HRQoLといった患者中心の最終的なアウトカムは、過程で要求されるべきである。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 患者中心のアウトカムの代わりに、検証された代替アウトカムを求めることは、絶対に必要な場合にのみ行うべきである。 ・ 代替アウトカムは、関連性があれば患者中心のアウトカムに加えて要求することができる。しかし、可能な限り、以前に妥当性が明確に確立された代替アウトカムのみを要求すべきである。
NICE	<p>4.6.5 費用対効用分析の場合：</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 患者の気分や機能、寿命などを反映する臨床的エンドポイントは、代替エンドポイントよりも有益であると考えられている。 ・ 「最終的な」臨床エンドポイントを使用することが不可能で、死亡率や健康関連QOLに対する技術の効果を推測するために他のアウトカムに関するデータを使用する場合、アウトカムとの関係を裏付けるエビデンスを、モデル化に使用するための関係の定量化方法の説明とともに提供しなければならない。
HAS	<p>(#1)</p> <p>2.1.1.費用対効果分析における健康アウトカム基準 提言9</p> <p>Reference case分析が費用対効果分析の場合、推奨される健康アウトカム基準は生命年である。死亡率指標は全死因死亡率でなければならない。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 生存年数を測定するのに必要なデータが入手できない場合、期待生存期間を予測する基準(predictive criterion)を使用することは、この代替エンドポイントの予測的性質の証拠が確立され、強力である場合にのみ認められる。 <p>(#2)</p> <p>2.1.2アウトカム指標</p> <p>透明性委員会（TC）は、試験の主要評価項目は、収集が可能であれば、関連する臨床エンドポイントでなければならないと考えている。関連性のある臨床評価項目が臨床試験で使用されない場合、その選択について企業による正当な説明が期待される。</p> <p>代替エンドポイント、特にバイオマーカーの使用は、代替エンドポイントの定義に従って、当該疾患における臨床的な罹患率や死亡率のエンドポイントとの関連性が証明されていることを条件として、関連する臨床的エンドポイントとみなされる。</p>
IQWiG	<p>3.1.2患者関連エンドポイントの代替エンドポイント</p> <p>有益性評価では、適切な統計的手法を用いて、十分に限定された患者集団内および比較可能な介入（作用機序が類似する薬剤など）内で事前に検証された場合にのみ、代替エンドポイントが考慮されるのが一般的である。代替アウトカムは、代替される患者関連アウトカムに対する効果が、代替アウトカムに対する効果によって十分に説明される場合、有効であるとみなされる可能性がある</p>
CDA-AMC	<p>9. 有効性</p> <p>9.3 研究者は、パラメータ推定に使用される代替エンドポイントの妥当性を評価し、正当化すべきである。代替エンドポイントとしてバイオマーカーの使用を検討する場合、研究者はバイオマーカーの妥当性及びバイオマーカーが代替エンドポイントの基準を満たす程度を評価し、正当化すべきである。</p> <p>その他の考慮点：</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 介入が期待される効果を有することを確実にするために、研究者はバイオマーカーの有効性、およびバイオマーカーが代替アウトカムの基準を満たす程度を評価し、正当性を示すべきである。
PBAC	<p>可能であれば、臨床的に関連するアウトカムに対する提案された医薬品の治療効果について、直接、無作為化試験から得られたエビデンスを提示すること。そのようなエビデンスがない場合は、代替指標の治療比較効果(comparative treatment effect)を変換することで、臨床的に関連するアウトカムに対する比較治療効果の可能性を確立する。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 代替指標(proposed surrogate measures: PSMs)とTCO(total clinical outcome)の関係は、PSMの変化の結果としてのTCOの変化を定量化するものである。

*HTACG Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024)より

#1 : Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS(2020年7月2日検証)

#2 : Transparency Committee doctrine Principles of medicinal product assessments and appraisal for reimbursement purposes (2020年12月2日)

表 6:代替エンドポイントのエビデンスレベル

HTA機関	エビデンスレベルについての記載
EUNetHTA	<p>代替エンドポイントと最終アウトカムの関係を検証するためのエビデンスは、エビデンスレベルを考慮して示されている：</p> <ul style="list-style-type: none"> ・レベル1：代替エンドポイントに対する治療効果が、（臨床試験から得られた）患者に関連する臨床転帰に対する効果に対応することを示す証拠；複数のRCTのメタアナリシスと、代替エンドポイントと臨床エンドポイントに対する効果の相関の確立からなる。 ・レベル2：代替エンドポイントと最終的な患者関連エンドポイントとの間に一貫した関連性があることを示すエビデンス（疫学的／観察研究による）。 ・レベル3：代替エンドポイントと最終的な患者関連エンドポイントとの関係について、生物学的に妥当であることを示す証拠（病態生理学的研究及び／又は疾患プロセスの理解によるもの）のみ。
EU*	<p>3.3.3 代替アウトカムの証拠レベル</p> <p>以下のエビデンスレベルをすべて考慮すべきである</p> <p>レベル1：代替アウトカムに対する治療効果が、患者中心のアウトカムに対する効果に対応することを示す証拠（臨床試験による）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・複数の無作為化対照試験のメタアナリシス（できればシステマティックな文献レビューによる） ・代替アウトカムに対する効果と患者中心のアウトカムとの間の相関の確立（それぞれの病期における）。 ・加盟国はHTDから提出された代替アウトカムの妥当性を自国の意思決定プロセスに照らして評価することができるが、代替アウトカムの妥当性を示すためには、（十分に強い相関を示すエビデンスがあれば）このレベルが必要である <p>レベル2：代替アウトカムと患者中心の最終アウトカムとの一貫した関連を実証するエビデンス（介入研究、疫学研究、観察研究による）</p> <p>レベル3：代替アウトカムと最終的な患者中心のアウトカムとの関連が生物学的に妥当であることを示す証拠のみ（病態生理学的研究および／または疾患理解から）。</p>
NICE	<p>4.6.7 代替エンドポイントが検証されたとみなされるためには、その代替エンドポイントに対する技術の相対的な効果が最終的な結果に対する相対的な効果を予測するものであるという十分な証拠が必要</p> <p>4.6.6 意思決定において3つのレベルで考慮することができる</p> <p>レベル1：代替エンドポイントに対する治療効果は、最終的な結果に対する相応の治療効果に一致する。RCTで示される</p> <p>レベル2：代替エンドポイントと最終的な結果との間に一貫した関連性がある。通常、疫学的研究または観察的研究から導かれる。</p> <p>レベル3：代替エンドポイントと最終的な結果との関係における生物学的な妥当性がある</p>
HAS	<p>具体的記載なし</p>
IQWiG	<p>具体的記載なし：引用文献(Lassere MN. Stat Methods Med Res 2008; 17(3): 303-340) の簡単な紹介あり</p>
CDA-AMC	<p>具体的記載なし：以下のようなエビデンスの取得についてののみ</p> <ul style="list-style-type: none"> ・実質的なデータが明確な機序の根拠によって裏付けられているかどうか、また、代替エンドポイントに対する効果が最終アウトカムに対する効果を予測する強力な証拠となるかどうかを検討すること
PBAC	<p>A5.2 生物学的推論と疫学的証拠</p> <p>A5.2.1 生物学的推論</p> <p>生物学的推論に関する情報要求は、医薬品の作用とは無関係に、疾患の病因と疾患または病態の経路、そしてPSM(proposed surrogate measures)とTCO(target clinical outcome)がそれらにどのように関連しているかに関わるものである。生物学的推論に関する情報要求は、医薬品の作用とは無関係に、疾患の病因と疾患または病態の経路、そしてPSMとTCOがそれらにどのように関連しているかに関わるものである。</p> <p>A5.2.2 疫学的証拠</p> <ul style="list-style-type: none"> ・疫学的または観察的研究は、PSMとTCOの関係の生物学的妥当性を支持するものである。同定された疫学的エビデンスを詳述すること。 ・関連性の性質または形状、関連性の強さ、精度（95%信頼区間[CI]）を含む統計的関連性を提示する。回帰係数やR2乗など、関連するすべての統計的出力を報告する。 <p>A5.3 全ての医薬品の無作為化試験データ</p> <ul style="list-style-type: none"> ・PSMとTCOの関係を検討した無作為化試験を見つけるため、検討した医薬品または医薬品のクラスに関係なく、体系的に文献をレビューする。 ・対象とした各試験またはメタアナリシスにおけるトライアルの特徴、複数のトライアルがある場合にはそのメタアナリシスの特徴、メタ回帰の結果や代替閾値効果の提示、異質性とその原因、結果の妥当性とその要約について提示する

*HTACG Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024)

表 7-1: 妥当性検証手法・基準値（閾値）に関する記載-1

HTA機関	検証手法・基準値
EUNetHTA	<ul style="list-style-type: none"> ・手順の大部分は、複数のRCTのメタアナリシスに依拠し、サロゲートに対する効果と臨床エンドポイントに対する効果の相関を推定している。 ・適切なサロゲートと推測するのにどの程度の相関係数が十分であるかについての明確なコンセンサスはないが、約0.85~0.95の値がよく議論される。 ・高い相関性が証明されない場合、代替閾値効果（STE）を考慮すれば結論が出る可能性がある（Burzykowski et al.） ・STEは複数のRCTの分析に基づき、臨床エンドポイントに対する効果を推定するために新たな試験で観察されなければならない代替エンドポイントに対する効果の最小絶対値を定義される。STEは、臨床的有益性につながるバイオマーカーの一定レベルの変化について計算可能である
EU*	<p>一般的に、これらの方法(代替アウトカムの検証)はメタ分析的アプローチに基づいている。代替閾値効果という概念は、患者を中心としたアウトカムに対する効果の確実性が高いと結論づけるために必要な、代替アウトカムに関する最小限の効果を示しているため、意思決定に有用である代替アウトカムと患者を中心としたアウトカムとの間に、臨床試験レベル（すなわち、効果の相関）と患者レベル（すなわち、アウトカムの相関）で十分な相関が確立するための普遍的な閾値はない。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・少なくとも0.85の相関は"高い"とされ、サロゲートアウトカムのバリデーションの基準として用いることができる
NICE	<p>(#1)</p> <p>1.3 代替エンドポイントの多変量メタアナリシスによる評価</p> <p>二変量メタアナリシスは、代替エンドポイントと最終アウトカムに対する治療効果の合同でのモデル化に用いて、臨床効果の推定値を早期に得ることができる利点がある。</p> <p>1.3.1 規制当局の意思決定とHTAにおける代替エンドポイント</p> <p>HTA機関は代替エンドポイントデータの活用を慎重であり、ガイドラインで適切に使用することの重要性を強調している。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・HTAの分析者や意思決定者は、代替エンドポイントの使用に慎重であるべきであり、適切に検証された場合にのみ使用するよう勧告 ・費用対効果を予測するために代替エンドポイントを使用することに伴う不可的な不確実性について十分に検討すべきである。 ・二変量メタアナリシスは、代替エンドポイントと最終アウトカムに対する治療効果を合同でモデル化するために用いることができ、臨床効果の推定値を早期に得ることができるという利点がある。 <p>二変量メタアナリシスの方法は、サロゲートと最終結果の関係を評価するために必要である。なぜなら、これらの方法は本質的に、これらの結果間の相関関係（またはこれらの結果について測定された治療効果間の相関関係）だけでなく、ガイドラインで述べられているように、意思決定モデリングに必要なすべての関連する不確実性も考慮するからである。</p> <p>一相関を考慮しなければ（直接的に、あるいは相関する効果間の何らかの関数関係を通じて）代替関係を定量化することはできない。線形回帰やメタ回帰のような方法では、関連する全ての不確実性を考慮しない（例えば、代替エンドポイントに対する治療効果に関連する不確実性を無視する）一方で、二変量メタアナリシスでは、研究内と研究間の両方で、関連する全ての不確実性を適切に考慮する</p>
	<p>(#2)</p> <p>第4章：代替エンドポイント</p> <p>4.1 代替性の妥当性評価(Validity of surrogacy)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・代替エンドポイントの評価には、候補となる代替エンドポイントに対する治療効果と最終アウトカムとの関連を確立するために、多くの試験からのデータに基づくメタ分析的アプローチがより適切である。サロゲートに対する治療効果と最終転帰の間のサロゲート関係の強さを確立し、新しい医療技術の最終転帰に対する治療効果の可能性を予測するためには、モデリングの枠組みが必要である。多変量メタアナリシスの手法は、定義上、サロゲートと最終転帰の治療効果間の相関だけでなく、サロゲート関係を記述する全てのパラメータに関連する不確実性も考慮するため、そのような枠組みを提供する。 <p>妥当性の閾値：</p> <p>代替エンドポイントが予測に適していると考えられるために、どの程度の相関が必要かを定量化することは難しい。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・代替性を証明するためには高いレベルの相関が必要との主張： <ul style="list-style-type: none"> －Lassereら：バイオマーカー代替評価スキーマの中で、高い相関性は研究間相関の2乗（またはいわゆる修正R2乗）が0.6以上と定義（Lassere et al., 2012） －IQWiG（ドイツ）は95%信頼区間下限≧0.85（https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/nbk198799/） ・代替エンドポイントを臨床的有用性の予測に用いることができるかどうかの判断は、代替関係の強さと、例えば規制上の目的など、新しい治療法の有効性について判断する必要性とのバランスに基づいて行うべきであるとの主張（Alonso A, 2016）。
HAS	<p>代替エンドポイントと患者中心のアウトカムの関連性</p> <p>代替エンドポイントを提出する場合、または患者を中心としたアウトカムが要求されていない、あるいは入手できない場合、代替エンドポイントと患者を中心としたアウトカムによる治療効果との間の関連性の強さを証明しなければならない。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・多くの場合、単一研究の場合は回帰分析で、複数研究の場合はメタ回帰で行われる。 ・理想的には、個人レベルと臨床試験レベルの両方で関連性が示されることである。 ・医療技術開発者（HTD）は、関連性を証明する科学的文献を提供することもできる。

*Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024) より

表 7-2: 妥当性検証手法・基準値（閾値）に関する記載-2

HTA機関	検証手法・基準値
IQWiG	<p>3.1.2患者関連エンドポイントの代替エンドポイント</p> <ul style="list-style-type: none"> ・代替エンドポイントのバリデーションについては、標準的な手順も、一般に最良とされる推定法も、一般に受け入れられている基準も存在しない。しかし、方法的な文献は、試験や個人レベルでの相関尺度の推定を伴う代替性検証のための相関に基づく手順に非常に多く費やされている。 ・研究所の有益性評価では、このような方法に基づくバリデーションが好まれる。これらの方法は、通常、代替エンドポイントへの影響と対象となる患者関連アウトカムへの影響の両方が調査された複数の無作為化試験のメタアナリシスを必要とする <p><具体的評価法></p> <ul style="list-style-type: none"> ・相関に基づく手法では、妥当性を実証するために通常、以下の条件が必要である。すなわち、一方では個々のレベルにおける代替エンドポイントと患者関連の転帰との高い相関、他方では試験レベルにおける代替エンドポイントへの効果と患者関連の転帰への効果との高い相関である ・代替エンドポイントが明確に検証できない場合（相関性が十分でない場合など）、「代替閾値効果（STE）の概念」を適用することも可能である <p><妥当性検証の根拠となった試験></p> <p>特定の作用機序を持つ介入について、代替エンドポイントと対応する患者関連アウトカムとの間に観察された関連性は、必ずしも作用機序が異なる同じ疾患の治療に用いられる他の介入に適用できるとは限らないため、検証の根拠となった試験は、ベネフィット評価で調査された治療上の適応について結論を導くことができる患者集団および介入、ならびに試験介入および比較対照介入を用いて実施されたものでなければならない。転移可能性を評価するためには、さまざまな疾患または介入を含む検証研究において、少なくとも異質性に関する分析が利用可能でなければならない。</p> <p><検証結果の信頼性> (#3) Rapid Report A10-05 : 図A</p> <p>妥当性検証試験の信頼性が高い場合：代替エンドポイントの妥当性について</p> <ul style="list-style-type: none"> ・代替エンドポイントと患者関連エンドポイントへの影響の高い相関（95%信頼区間の下限）$R \geq 0.85$から推測できる。 ・相関が低い（95%信頼区間の上限）$R \leq 0.7$であれば、代替エンドポイントの妥当性がないことが証明される。 ・相関が中程度（$R < 0.85 \sim 0.7$）の場合、代替エンドポイントの有効性は不明のまま <p>妥当性検証試験の信頼性が限定的または中程度の場合：代替エンドポイントの妥当性は不明確、すなわち決定的な評価ができない。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・代替性エンドポイントの妥当性に関するデータが入手できない、あるいは、入手可能なデータでも信頼性が低い場合：代替エンドポイントの結果に基づいて患者関連エンドポイントに関する結論を導き出すことはできない。
CDA-AMC	<ul style="list-style-type: none"> ・サロゲート候補を報告する複数のデータ源の中から一つのデータ源を選択する場合、これらのサロゲートは先に定義した目的適合性、信頼性、一貫性の基準で評価されなければならない。 <p>(#4)</p> <p>4.6.2</p> <ul style="list-style-type: none"> ・がん領域の経済評価において代替アウトカムを使用する決定は、正当化されなければならない。代替アウトカムの検証は、統計学的、臨床的、生物学的に理にかなってなければならない —サロゲートアウトカムと最終的な臨床エンドポイントとの間に、強く、独立した、一貫した関連があるか？ —同じ疾患設定、同じ薬物クラスにおいて、サロゲートの改善が一貫して最終転帰の改善につながったというランダム化試験のエビデンスはあるか？ ・他の薬物クラスにおいて、代替アウトカムの改善が同じ疾患設定における最終アウトカムの改善に一貫してつながったというランダム化試験のエビデンスはあるか？ —結果はどうだったのか？ —治療効果の大きさ、正確さ、持続性は？
PBAC	<p>A5.1.1 提案される代替指標</p> <p>PSMが応答性ととも信頼性と妥当性をもって測定できることを確認する。</p> <p>A5.3.3 臨床試験(トライアル)結果</p> <ul style="list-style-type: none"> ・無作為化試験の結果と、PSMに対する比較治療効果とTCO(target clinical outcome)に対する比較治療効果の関係を提示する。 ・一群の薬剤について複数の試験が存在する場合は、個々の試験についてメタ解析の結果を明確に示す。メタ回帰の結果には、切片と係数（及びその95%CI）、臨床試験と個人（個々の患者データがある場合）のR二乗、予測範囲(prediction band)によって決定される代替閾値効果を含める。メタ回帰が示されていない場合は、その旨を説明すること。 ・関係の形（例：線形、指数関数）の詳細と、PSMの比較治療効果がTCOの比較治療効果を予測しなくなる下限または上限の効果の証拠があるかどうかも含めること。 <p>A5.3.5 結果の妥当性</p> <ul style="list-style-type: none"> ・各臨床試験、メタアナリシス、メタ回帰について、本付録のセクションA5.2に示された疫学的エビデンスに従って計算した場合、観察されたTCO比較治療効果と予測されたTCOへの効果を比較する。 ・PSMに対する比較治療効果とTCOに対する比較治療効果の関係について、複数の推定値が確立されている場合は、ベースケースとして1つの推定値の選択を正当化し、残りは感度分析として提示する。 <p>A5.4.3 提案された医薬品の比較治療効果の推定</p> <ul style="list-style-type: none"> ・PSMに対する比較治療効果とPSM-TCO関係の推定値には不確実性があるため、統計的手法でこれを把握し、TCOに対する比較治療効果の推定値を95%CIとして提示する。

#1 NICE DSU TECHNICAL SUPPORT DOCUMENT 20: MULTIVARIATE META-ANALYSIS OF SUMMARY DATA FOR COMBINING TREATMENT EFFECTS ON CORRELATED OUTCOMES AND EVALUATING SURROGATE ENDPOINTS(2019)(相関する結果に対する治療効果の統合と代替エンドポイントの評価のための多変量メタ分析)

#2 CHTE2020 SOURCES AND SYNTHESIS OF EVIDENCE; UPDATE TO EVIDENCE SYNTHESIS METHODS(2020)(エビデンスの情報源と統合：更新されたエビデンス統合方法)

#3 Aussagekraft von Surrogatendpunkten in der Onkologie; Rapid Report(2011) A10-05

#4 Addendum to CADTH's Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Specific Guidance for Oncology Products(2009)

表 8 IQWiG によるがん治療薬における代替エンドポイントの妥当性の評価

検証研究の信頼性	代替EPと患者関連EPとの相関	代替閾値効果 (STE*)	代替EPへの介入効果	患者関連EPへの介入効果の評価
高い	高い： R (95%CI下限) ≥ 0.85		あり	⇒ 最大でも「効果を示す証拠」があるにとどまる**
			なし	⇒ 効果を示す証拠は存在しない
	中等度： R (95%CI下限) $0.7 < \sim < 0.85$	代替指標の95%CIがSTE*を上回る 代替指標の80%CIがSTEを上回る 代替指標の80%CIがSTE以下		⇒ 最大でも「効果を示す証拠」があるにとどまる
				⇒ 最大でも「効果の示唆」があるにとどまる ⇒ 効果を示す証拠は存在しない
低い： R (95%CI下限) ≤ 0.7			⇒ 効果を示す証拠は存在しない	
限定的	高い： R (95%CI下限) ≥ 0.85		あり	⇒ 最大でも「効果の示唆」があるにとどまる
			なし	⇒ 効果を示す証拠は存在しない
	中等度： R (95%CI下限) $0.7 < \sim < 0.85$	代替指標の95%CIがSTEを上回る 代替指標の80%CIがSTEを上回る 代替指標の80%CIがSTE以下		⇒ 最大でも「効果の示唆」があるにとどまる
				⇒ 最大でも「効果を示すヒント」があるにとどまる ⇒ 効果を示す証拠は存在しない
低い： R (95%CI下限) ≤ 0.7			⇒ 効果を示す証拠は存在しない	
中等度	高い： R (95%CI下限) ≥ 0.85		あり	⇒ 最大でも「効果を示すヒント」があるにとどまる
			なし	⇒ 効果を示す証拠は存在しない
	中等度： R (95%CI下限) $0.7 < \sim < 0.85$	代替指標の95%CIがSTEを上回る 代替指標の95%CIがSTE以下		⇒ 最大でも「効果を示すヒント」があるにとどまる
				⇒ 効果を示す証拠は存在しない
低い： R (95%CI下限) ≤ 0.7			⇒ 効果を示す証拠は存在しない	
低い				⇒ 効果を示す証拠は存在しない

*STE:surrogate threshold effect

**「最大でも～」は検証結果の確実性に応じて、結果が証拠⇒示唆等に格下げる可能性を意味する。

IQWiG Reports – Commission No. A10-05 Validity of surrogate endpoints in oncology(2011) の図B～Eを基に改変し作成

表 9: 代替エンドポイントの妥当性エビデンスの他の医療技術分類への適用性

HTA機関	他への適用性(転移性・外挿性)
EUNetHTA	<p>代替エンドポイントの妥当性を適応外の他の技術分類に外挿する試みは常に困難であり、十分に正当化されなければならない。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・疾患特異的（疾患特異的な病期）：妥当性検証は一つの適応の中で実施 ・集団特異的：ある疾患を有する異なる患者集団（年齢、性別、併存疾患）に対して、エンドポイントが正当化されるべきかどうかの妥当性 ・技術特異的：代替エンドポイント（LDL-Cなど）は、技術分類ごとに個別の妥当性検証が必要（例：薬剤の場合、LDL-Cがスタチンでは妥当とされるが、フィブラートではされない）
EU*	<p>代替アウトカムと最終的な患者中心のアウトカムとの関連が、異なる病期、集団、介入について過去に検討されている場合、評価報告書では、現在の対象集団と介入におけるこの関連の妥当性への影響を検討すべきである。</p>
NICE	<p>4. モデル構築方法</p> <p>4.6.8代替エンドポイントの妥当性確認は、対象となる集団や技術の種類に特有のものである。</p> <p>4.6.9別の集団、別のクラスに属するテクノロジー、または作用機序が異なる場合、最終的な関係に代替エンドポイントを外挿する根拠を十分に説明すること。</p> <p>4.6.10 外挿は、技術支援文書20(#2)に概説されているように、十分に類似したクラスの技術、集団、設定から情報を借用できる推奨されるメタ分析方法を用いて行うべきである。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・既存の関連するメタ分析モデルを使用してもよい。しかし、過去のモデルが異なる設定で収集されたデータに基づいている場合は、適切なメタ分析技法を用いて新しいモデルを開発することが推奨される。これにはネットワークメタ解析や、技術クラス間の作用機序の違いを反映した階層的な手法、またはファースト・イン・クラス（画期的医薬品）のシナリオが含まれる。
HAS	<p>具体的な記載なし</p>
IQWiG	<p>(#1)</p> <p>3.1.2患者関連エンドポイントの代替エンドポイント</p> <ul style="list-style-type: none"> ・特定の作用機序を有する介入について、代替エンドポイントと対応する患者関連アウトカムとの間に観察された関連は、同じ疾患の治療であっても作用機序が異なる介入には必ずしも適用できない。したがって、バリデーションの基礎となる研究は、ベネフィット評価の根拠となる治療領域、評価対象となる介入、及び比較対照となる介入について結論が導き出せるような患者集団及び介入を用いて実施されていなければならない。移植性を評価するために、異なる疾患実体や介入を含む検証研究は、少なくとも適切な異質性解析を含むべきである。 <p>(#2)</p> <p>サブゴール1：方法論的アプローチの提示と評価</p> <p>代替エンドポイントの有効性についての結論を、異なる疾患や病期間、あるいは異なる介入間に移行することは容易ではない。代替エンドポイントの妥当性は疾患特異的であると同時に介入特異的でもありうる。すなわち、統計的手法によるサロゲートの決定的な妥当性の検証は、ある適応症や介入においてのみ行われる可能性がある。代替エンドポイントの妥当性に関する結論が、異なる疾患や介入間でどの程度移行できるかを検証し、正当化しなければならない。様々な疾患や介入を含むバリデーション研究で移植性を評価するためには、少なくとも異質性に関する解析が必要である。</p>
CDA-AMC	<p>具体的な記載なし</p>
PBAC	<p>A5.4.2 エビデンスの適用性</p> <ul style="list-style-type: none"> ・PSMに対する治療効果とTCOに対する治療効果の関係の結果の異なる集団や病期への適用性は保証されていない。しかし、異なる集団や病期における一貫性のエビデンスは支持的である。

表 10-1:費用対効果モデルにおける考慮点-1

HTA機関	費用対効果モデルにおける考慮点
EUNetHTA	<p>具体的な記載なし：ただし、付録3の文献の分析と統合の中で、Taylor & Elston, Health Technology Assessment, 2009の論文の推奨3. 費用対効果モデルも代替エンドポイントを用いる場合には透明性の確保と不確実性の検討、代替/最終エンドポイントの関係性への今後の必要な研究についての助言を与えることの紹介あり。</p>
EU*	<p>具体的な記載なし：ただし、3.3.4 代替アウトカムの活用に関わる不確実性の項目において次の2点の考慮が求められている。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・エビデンスに関連する不確実性があれば、データがある場合はそれを定量化する。
NICE	<p>4. モデル構築方法</p> <p>4.6.11 費用対効果分析において、QALYを推定するための代替エンドポイントの有用性は、それが健康関連QOLまたは生存を予測するという強い証拠がある場合に最大となる。</p> <p>すべての場合において、代替エンドポイントと最終転帰の関係に関連する不確実性を定量化し、提示すべきである。また、確率的感度分析 (probabilistic sensitivity analysis) により含めるべきであり、シナリオ分析 (scenario analysis) によりさらに検討することができる。</p>
HAS	<p>経済評価手法の選択：</p> <ul style="list-style-type: none"> ・リファレンス・ケース分析が費用対効果の場合、分析に使用する健康アウトカム基準は、生命年数とする。死亡率の指標は全死因死亡率とする。 <p>生存年数の測定(measurement)に必要なデータが入手できない場合、予想生存時間の予測基準(predictive criterion)の使用は許容されるかもしれないが、この代替エンドポイントの予測的性質(predictive nature)について強力で確立された証拠がある場合に限られる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・費用対効果分析は、補足的分析(supplemental analysis)において、基準の選択を支持する根拠とともに、他の健康アウトカム基準に基づくことができる。 <p>生存年数の測定(measure)をするのに必要なデータが入手できない場合は、生存予測基準を用いることができるが、この代替エンドポイントの予測特性について強力で確立された証拠が場合に限る。相関係数は提示され、適正に正当化されるべきである。予測関係から生じる不確実性は、感度分析を通じて検討されるべきである。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・このような科学的実証がない場合、レファレンスケース分析では、評価した介入とその比較対象との間に生存率の差がないという仮定を用いるべきである。関連する場合、生存率が高いという仮定に基づく評価結果は、シナリオ分析で提示されるべきである。
IQWiG	<p>具体的な記載はなし：ただし、以下の記載は関連している。</p> <p>Allgemeine Methoden Version 7.0 3.1.2 患者関連エンドポイントの代替</p> <ul style="list-style-type: none"> ・サロゲートエンドポイントを使用する場合には、特に患者関連エンドポイントとの関連において、その妥当性を検討し、正当化する必要がある。 <p>4.11 不確実性への対応/感度分析</p> <ul style="list-style-type: none"> ・健康経済分析においては、パラメータ不確実性に対処するため、単変量および多変量の決定論的感度分析 (DSA) ならびに確率的感度分析 (PSA) を実施しなければならない。

*Procedural guidance for JCA medicinal products v1.0 (2024)より

表 10-2: 費用対効果モデルにおける考慮点-2

HTA機関	費用対効果モデルにおける考慮点
CDA-AMC	<p>・サロゲート転帰を最終転帰に変換するために使用されたアプローチの適切性の判断は、最終的には、結果を検証するために、適切な実世界のデータソースを利用できるようにする必要がある</p> <p>・参考例(reference case)では、サロゲートと最終転帰との真の関連性は不明として扱い、この不確実性を確率論的解析に反映させるべきである。サロゲートと最終転帰との関連における不確実性は、適切なシナリオ解析によって検討することもできる。有効なサロゲートが複数存在する可能性がある場合は、不確実性の分析にも反映させるべきである。</p> <p>4.2.4 最終アウトカム（獲得生存年数など）を用いるか、それが不可能な場合は重要な患者アウトカムを用いる。代替アウトカムは、これらのアウトカムの1つとの関連性が確立されている（すなわち、検証されている）場合にのみ使用する。</p> <p>4.6.2実行可能で科学的に信頼できる場合は、入手可能な最善のエビデンスと適切なモデリング技法を用いて、有効性データをリファレンスケースにおける有効性の最良の定量的推定値に変換する。これには、代替アウトカムを重要な患者の転帰に結びつけたり、試験期間を超えてデータを外挿したりすることが含まれる。</p> <p>・分析者は、代替アウトカムと最終転帰との間の関係の質を判断し、経済評価における対象転帰として代替アウトカムを用いることを正当化することが推奨される。</p> <p>・医療技術評価における代替アウトカムの使用は、OSへの外挿を伴わなければならない。3種類の関係が考えられる：どれが適用されるかは、与えられたシナリオにおける入手可能な最善の証拠に依存し、適切な正当性を伴わなければならない。</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 代替アウトカムはOSを完全に予測する。 2. 代替アウトカムはOSをある程度予測できる。 3. 代替アウトカムとOSとの関係は証明されていない <p>(#1)</p> <p>・代替指標と最終的な結果との関係は、不確実性分析に影響を与える。解析者は、代替指標の変換に関する不確実性は、統計的または構造的であることを認識する必要がある。不確実性分析において、分析者は治療の比較効果の不確実性と、この効果の外挿に関する不確実性を考慮する必要がある。提案された代替指標と最終転帰との間の外挿関係がほとんど知られていない場合、負の相関関係の可能性を含め、予測される事象のもっともらしいスペクトルを検討するシナリオ分析または重み付けシナリオ分析を検討する必要がある。</p>
PBAC	<p>2.4.3 アウトカム</p> <p>治療上の結論または経済的評価にとって重要な場合にのみ、（主要転帰ではない）代替アウトカムを提示する。代替アウトカムの対象となる臨床的（患者関連）アウトカムを明記し、3A.4.2 項に記載された患者関連カムへの代替アウトカムの変換を提示する。</p> <p>3A.1.6 ベースケースの生成</p> <p>臨床試験ベースの代替アウトカムを最終的な患者関連アウトカムに変換する(3A.4.2)</p> <p>3A.4.2 代理的健康アウトカムの目標臨床アウトカムへの変換</p> <p>PSMの転換を正当化する、TCOに関する不十分なまたは早期の治療効果データの程度に関する一般的な原則はない。しかし、PSMが変換され、対応するTCOに対する直接的な治療効果データも利用できる場合は、代替データと直接データを個別に適用してモデルを構築する。両方のアプローチが長期的にみて、TCOに対する比較治療効果の類似した推定値を提供する場合、これはモデルの妥当性を検証するのに役立つ。PSMが変換される場合、感度分析が、PSMに対する比較治療効果の推定における不確実性と、変換の不確実性を表していることを確認する。これは、TCOに対する比較治療効果の直接測定値が使用される場合よりも複雑である。</p> <p>(#2)</p> <p>パート5. 経済評価への組み込み</p> <p>・経済評価では、最終的なアウトカムを推定するためにいくつかのモデリングアプローチが用いられており、PSMからTCOへの変換とは独立した仮定に依存しているものもある。このような場合、TCOの推定値を生成するために変換をモデルの較正にも使用することが可能となりうる。このような較正は、変換された推定値の不確実性の程度によって制限されるだけでなく、メタ回帰分析の対象とするためには、TCOをより厳密に単一時点で定義する必要がある。</p>
#1	<p>Addendum to CADTH's Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Specific Guidance for Oncology Products(2009)</p>
#2	<p>Report of the Surrogate to Final Outcome Working Group to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee: a framework for evaluating proposed surrogate measures and their use in submissions to PBAC(2008)</p>

2024 年度福田班報告書

医療技術評価における生成 AI・大規模言語モデル(LLM)の利用可能性

森脇 健介

立命館大学 生命科学部 生命医科学科 医療政策・管理学的研究室

立命館大学 総合科学技術研究機構 医療経済評価・意思決定支援ユニット(CHEERS)

1. はじめに

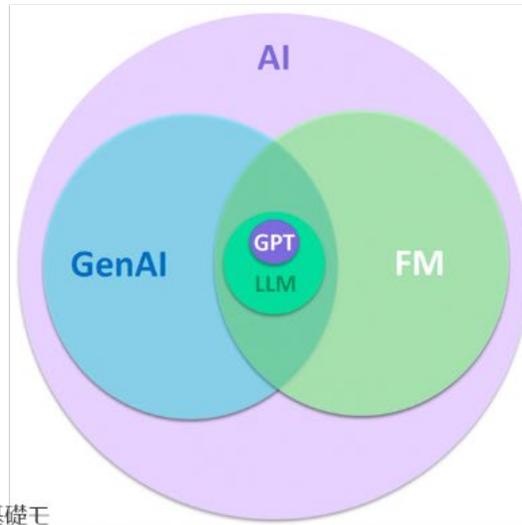
人工知能(AI : artificial intelligence)の明確な定義はないが、一般に、「大量の知識データに対して、高度な推論を的確に行うことを目指したもの」(人工知能学会より)と理解される(図 1)[1]。生成 AI(Generative AI)とは、入力データ(プロンプト)に基づいてテキスト、画像、またはその他のコンテンツを生成することができる AI システムをさす。基礎モデル(Foundation Models)とは、様々な目的を果たす機械学習モデルである。こうしたモデルは大規模なデータで訓練され、微調整の有無にかかわらず、幅広いタスクに適応可能である。大規模言語モデル(LLM : Large Language Models)は、この両者の条件を満たすものであり、膨大なテキストデータで学習された特定のタイプの基礎モデルで、膨大なデータセットから得られた知識に基づいて、テキストやその他のコンテンツを認識、要約、翻訳、予測、生成するものである。なお、GPT(Generative Pre-trained Transformer)は、OpenAI が開発した LLM であり、特に人間のようなテキストを生成するのに適している。近年、医学研究や医療実践において、こうした生成 AI や LLM の利活用が急速に進んでいる。こうした動きは、医療技術評価(HTA : Health Technology Assessment)の領域でも同様であり、本研究ではその一端を紹介したい。

人工知能 (AI : artificial intelligence)

「大量の知識データに対して、高度な推論を的確に行うことを目指したもの」
(人工知能学会)

生成AI (Generative AI)

入力データ(プロンプト)に基づいてテキスト、画像、またはその他のコンテンツを生成することができるAIシステム



基礎モデル(Foundation Models)

様々な目的を果たす機械学習モデル。大規模なデータで訓練され、微調整の有無にかかわらず、幅広いタスクに適応可能。

大規模言語モデル(Large Language Models)

膨大なテキストデータで学習された特定のタイプの基礎モデルで、膨大なデータセットから得られた知識に基づいて、テキストやその他のコンテンツを認識、要約、翻訳、予測、生成する

GPT (Generative Pre-trained Transformer)

OpenAIが開発したLLM。特に人間のようなテキストを生成するのに適している。

図 1. AI 関連用語

[1]より引用改変

2. Chat-GPTについて

2022年にChat-GPTが開発・公開されて以降、誰しもが生成AI・LLMの恩恵に預かる場所となっている。Chat-GPTの仕組みは、実はシンプルであり、基本的には一定のルールの下、1つずつ単語を足しているだけである[2]。ルールとは、現在の出力内容の「順当な続き」を出力しようと試みることである。ここでいう「順当」とは、「億単位のWEBページに書かれている内容を見たうえで、人間が書きそうだと予測される」という意味である。例えば、Chat-GPTが「The best thing about AI is its ability to…」と出力しているときに、次に来る単語は、学習済みのデータから同じような文脈で出現確率の高いものを出力させるのである。ただし、このルールだとありきたりなものばかり生成されることになる。このため、Chat-GPTのモデル内では、Temperature(温度)というパラメータの設定により、ときどきランクの低い単語をランダムに選ぶのである。これより創造性のある応答の生成が可能とされる。

The best thing about AI is its ability to…
(AIの一番の長所としてあげられるのは)



次に来る単語	確率
Lean	4.5%
Predict	3.5%
Make	3.2%
Understand	3.1%
Do	2.9%

Temperature(温度)というパラメータ設定により、ときどきランクの低い単語をランダムに選ぶ。

図 2. Chat-GPT による生成のイメージ

[2]より引用改変

なお、質問の言語によって「使用言語モデル」が変わるようである。どの言語を使用すべきかであるが、「使用言語モデル」によって、質問に対する情報量は異なるため、質問に対して、情報をより多く持っていそうな言語モデルを使うと「より精度の高い回答」が期待できる。例えば、日本に独特のローカルな内容については、英語のモデルより日本語のモデルの方が、その情報量が多いため、日本語でプロンプトを作成した方がよいということになる。

3. HTA における活用状況

生成AI・LLMは、HTAのあらゆる文脈での活用が期待されている。その中でも、現在、具体的な活用が活発になっているのが、以下の3領域である[1]。

① システマティックレビューとエビデンス統合への応用

追加的有用性の評価では、当該医療技術の臨床研究のエビデンスについてのシステムティックレビューを実施し、必要に応じてメタアナリシス等の統合解析が行われる。例えば、リサーチクエスチョンに対応する最適な検索式の構築やタイトル・アブストラクトのスクリーニングの自動化、アウトカム情報の抽出、ネットワークメタアナリシス等の統計モデルのプログラム構築といった業務において、生成 AI・LLM の利用が進められている。いくつかの研究事例では、人間と同等の精度でデータ抽出やスクリーニング可能であることを示唆している。ただし、誤りや捏造(幻覚)が含まれる可能性があるため、人間による監視と検証が必要であり、また、異なる LLM 間での再現性が課題となっている。

② リアルワールドエビデンス(RWE)への応用

生成 AI・LLM の利点として、データ処理と分析の効率性の向上、ヒューマンエラーを最小限に抑えエビデンス生成プロセスを標準化することによる精度と一貫性の向上が挙げられる。例えば、RWE で活用する際のメリットとして、電子カルテ等に含まれるメモといった構造化されていないデータを抽出、変数化し、臨床研究に活用できることが期待されている。一方で、記述データから国際疾病分類や診療行為コードにマッピングする際の分類精度は依然として課題があるとされている。

③ 医療経済評価のモデリングへの応用

生成 AI・LLM は、費用効果分析のモデルの概念化、パラメータ化、モデルの実装、モデル結果の評価と検証など、モデル開発のさまざまな段階をサポートする可能性がある。Reason らは、GPT-4 を使って、公表されている 2 つの費用効果分析(腎癌・肺癌)を自動的にプログラムした[3]。R でモデルをプログラムするよう指示するプロンプトを開発し、各モデルの方法、仮定、パラメータ値の説明を提供した。生成されたスクリプト(15 回試行)の結果を、人間がプログラムしたオリジナルモデルの公表値と比較したところ、肺癌モデルの 93%(14/15)は腎癌モデルの 60%(9/15)は完全にエラーがなかったとされる。また、エラーのないモデルスクリプトは、公表された増分費用効果比を 1%以内で再現した。こうした利用事例がある一方で C 型肝炎のマルコフモデルの構築を、2 種類の基礎モデルで実行したところ、モデル間で疾患進行の概念化に大きなばらつきがあり、専門家による指導が不可欠であることが考察されている[4]。また、パラメータ誤りやコーディングエラーのリスクがあるため、解析者は慎重に利用する必要がある。

4. Chat-GPT のカスタマイズ

Chat-GPT に役割を与え、所定の作業を自動化することが可能である。Turgay Ayer 氏は、昨年の国際学会 ISPOR において、一連のプロンプトを入力し、Chat-GPT に医療経済評価のためのモデル構築をサポートするアシスタントとして機能させるデモンストレーションを行った[5]。ここでは、そのときのプロンプトの記載を日本語に翻訳し、アレンジし

たものを紹介する。

①最初に Chat-GPT に、(1)を入力する。

1) 以下、一連のプロンプトを順番に提示します。各プロンプトの後、「プロンプトの続きを入力してください」とだけ言ってください。私が「プロンプトは以上です」と言うまで、これを続けてください。私が「プロンプトは以上です」と言ったら、すべての情報を一度に処理してください。いいですか？

②次に、(2)~(9)を入力する。

2) HEOR モデラーのアシスタントとして行動してください。あなたのタスクは、マルコフ連鎖の HEOR モデルを構築することです。まず、疾患、介入、国について質問します。不足しているものがあれば、再度質問します。

3) 3つの項目すべてが提供されたら、以下の作業を行います。

- 選択された疾患、介入、および国の概要を提示します。
- 関連するマルコフ費用対効果研究を検索し、健康状態、介入、および引用を一覧表に記載します。
- ユーザーがさらに研究を追加したいかどうかを尋ねます。該当する研究が見つからない場合は、「この特定の疾患、介入、および国に関する関連研究は見つかりませんでした」と伝えます。

4) 次に、ユーザーにモデルパラメータを提示します。

- 健康状態：公表された研究に基づいていくつか提案します。
- 人口規模：特に指定がない限り、デフォルトは100,000です。
- タイムホライズン：ユーザーに月単位の値を尋ねます。

5) 各パラメータについて、ユーザーの確認を待ってから次に進みます。すべて確認されたら、モデル構造を要約し、「確認」または「変更」を求めます。

6) 次に、調査に基づいて遷移確率を推定します。表形式で値を表示し、ユーザーに変更の要否を尋ねます。

7) ユーザーがすべてを確認した後、以下を表示します。

- 「パラメータ」と「値」の列を持つ「**モデルパラメータ表**」
- 「From」、「To」、および「Probability」の列を持つ「**遷移確率表**」

8) その後、適切なモデルを構築します。モデルが構築されたら、モデルのRコードを表示し、ベースケースの結果を表示します。その後、ユーザーにこのモデルで何をしたいかを尋ね、それらのタスクを実行します。

9) 常にユーザー入力を待ち、次のステップを想定しないようにします。正確かつ精密に、無関係な質問には回答しないようにします。

③最後に以下を入力する。

「プロンプトは以上です」

そうすると、Chat-GPTはプロンプトにある通り、モデル構築のアシスタントとして、使用者のリサーチクエストに沿ったモデルの概念化、仮想的なパラメータの設定、Pythonによるモデル構築を実行してくれる。また、追加の指示を与えることでRでのコーディングを行わせることも可能である。

5. マイ GPT の作成

Chat-GPTの有料版では、マイ GPT と呼ばれる特定の目的に特化したカスタムされた Chat-GPT を作成することができる。新規に作成するときは、名前や説明、指示(一連のプロンプトを入力しておく)、会話のきっかけを入力しておく(図 3)。なお、事前の知識として特定のファイルをアップロードし、カスタム GPT に学習させたいうえでやり取りすることも可能である。図 3 の例では、費用効果分析のモデル構築のアシスタントの役割を果たすマイ GPT を作成してみた。



図 3. マイ GPT の作成

Chat-GPTの有料版を使用できる方は図 4 の QR コードからお試しく下さい。その他、システムティックレビュー(SR: Systematic Review)における PubMed 検索式作成を支援するマイ GPT やアップロードした文献データからハザード比など特定のアウトカムを抽

出されるマイ GPT も作成しており、試しにご利用いただければ幸いです(注：あくまでも個人の学習の範囲でご利用ください)。

モデル構築支援



SR検索式支援



アウトカム抽出支援



図 4. マイ GPT の例

6. Chat-GPT による SR の支援

現在、特に SR 業務において生成 AI・LLM 活用の検討が進んでいる。今回は、日本の費用対効果評価制度で評価されたラブリズマブの SR 検索の事例を Chat-GPT で再現することを試みる[6]。ラブリズマブは発作性夜間ヘモグロビン尿症(PNH)の治療薬であり、エクリズマブと比較した RCT のエビデンス検索が行われた(図 5)。当時の SR の結果、ピボタル試験である 301 試験と 302 試験の 2 報が特定された(※後の監視過程で日本人サブグループ解析の論文 1 報を追加で特定した)。

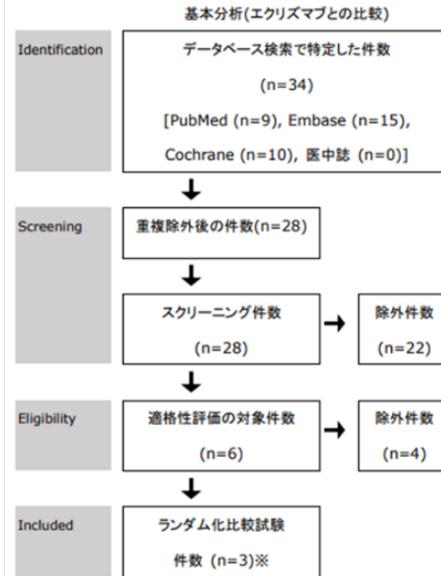
ラブリズマブ(ユルトミス点滴静注)に

関する公的分析の結果

【第 1.2 版】

【第 1 版 2020 年 12 月 25 日】

項目	基本分析
対象集団	PNH 患者
介入	ラブリズマブ
比較対照	エクリズマブ
アウトカム	有効性・安全性
研究デザイン	ランダム化比較試験
文献検索期間	2016 年 1 月から 2020 年 1 月まで



<基本分析のための論文リスト>

- (1) Lee JW, Sicre de Fontbrune F, Wong Lee Lee L, et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naive to complement inhibitors: the 301 study. Blood. 2019;133(6):530-539.
- (2) Kulasekararaj AG, Hill A, Rottinghaus ST, et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in C5-inhibitor-experienced adult patients with PNH: the 302 study. Blood. 2019;133(6):540-549.
- (3) Ishiyama K, Nakao S, Usuki K, et al. Results from multinational phase 3 studies of ravulizumab (ALXN1210) versus eculizumab in adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: subgroup analysis of Japanese patients. Int J Hematol. 2020;112(4):466-476.

システマティックレビューの結果、基本分析(エクリズマブとの比較)のリサーチエスジョンに該当するランダム化比較試験は、301 試験、302 試験の 2 件であった(基本分析のための論文リストの(1)と(2))。また、システマティックレビュー実施完了後に公表された新たな臨床試験等を監視する過程で、301 試験、302 試験の日本人集団におけるサブグループ解析の論文を 1 件、特定した(基本分析のための論文リストの(3))。なお、シナリオ分析(BSC との比較)のリサーチエスジョンに該当するランダム化比較試験は確認できなかった。

図 5. SR の検索事例

図4のSR支援GPTを使用して、同様のPICOTでPubMed検索式を生成してもらった(図6)。上は医学領域専門のライブラリアンが、下がChat-GPTが作成したものである。この下の式を用いて検索すると、過去の事例と同様に、301試験と302試験の2論文と、さらにこれらのOpen Label Extension試験論文が特定された(これは2020年10月公表のため当時のSRでは特定不可)。

公的分析による検索式

PubMed 検索式
検索実施日:2020年1月16日
("Hemoglobinuria, Paroxysmal"[MH] OR "nocturnal hemoglobinuria"[TIAB] OR "paroxysmal hemoglobinuria"[TIAB] OR "marchiafava micheli"[TIAB]) AND ("ravulizumab"[NM] OR ravulizumab[TIAB] OR ultomiris[TIAB]) AND ("eculizumab"[NM] OR eculizumab[TIAB] OR soliris[TIAB] OR h5g1[TIAB]) AND ("Randomized Controlled Trial"[PT] OR ("randomized"[TI] AND (trial[TI] OR trials[TI]))) OR "Randomized Controlled Trials as Topic"[MH]) AND("2016"[PDAT] : "3000"[PDAT])

Chat-GPTによる検索式

```
("Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria"[Mesh] OR
"PNH"[tiab] OR "Paroxysmal Nocturnal
Hemoglobinuria"[tiab])
AND ("Ravulizumab"[tiab] OR "ravulizumab-
cwvz"[tiab] OR "ALXN1210"[tiab])
AND ("Eculizumab"[tiab] OR "Soliris"[tiab])
AND (randomized controlled trial[Publication Type]
OR randomized[tiab] OR placebo[tiab] OR
"randomized controlled trial"[tiab] OR RCT[tiab])
AND ("2016/01/01"[PDAT] : "2020/01/01"[PDAT])
```

図6. SRの検索式の例

なお、2025年2月からChatGPTの全有料プランで「deep research」と呼ばれる「詳細なリサーチ」機能が利用可能となっている。通常のChat-GPTのプロンプトに、先ほどのSRのPICOTを指示し、「詳細なリサーチ」のボタンをクリックすると、数分かけて様々な利用可能なソースの検索・参照を反復し、結果、過去の事例と同じく301試験と302試験の2論文の特定に至っている。同じく2025年2月には、AIベースのSRの包括的なサービス「Elicit」がリリースされ、論文の要約、データの抽出、調査結果の統合など、時間のかかる調査作業の自動化が可能となりつつある[7]。

7. 生成AI・LLM利用上の課題

生成AI・LLMは、HTAのあらゆる文脈での活用が期待されている。一方で、利用における以下のような限界や課題を認識しておく必要がある。

- ① 妥当性、信頼性、透明性、説明責任
- WEBから一般に入手できる大規模データで学習されるため、医療など専門分野に応用した場合のエラー、幻覚（捏造）のリスクがある。

- 従来の統計ツールよりも複雑で、ユーザーや LLM に依存したばらつきが生じる。
- ② バイアスと公平性・公正性
- LLM の開発で混入したバイアスが伝播・増幅し、個人や社会に害をもたらすリスクがある。
- ③ 規制と倫理的配慮
- 絶対的な非識別化は達成不可能であり、再識別化のリスクもゼロではないため、保護された健康情報を含むデータの使用は避けること。

なお、代表的な HTA 機関であるイギリスの NICE は、AI を使用したエビデンスの生成に関連して、いち早く声明を公表しており、HTA の各種タスクにおける生成 AI・LLM の利用可能性と留意点について整理を行っている[8]。

8. さいごに

これまで紹介してきた通り、生成 AI・LLM は、SR の実施や経済評価モデル構築を支援する有力なツールとなる。作業過程の一部を自動化し、エビデンスの統合、パラメータ化、レポート作成などの作業に必要な時間と労力を削減することができる。一方で、生成 AI・LLM は、人間の専門家に完全に取って代わるのではなく、それを補強しサポートする立場にあることを理解する必要がある。今後、医療者・研究者は、生成 AI・LLM 使用の限界に留意すべきで、規制・ルール、教育環境の整備に継続して取り組む必要がある。

参考文献

1. Fleurence, Rachael L. et al. Generative Artificial Intelligence for Health Technology Assessment: Opportunities, Challenges, and Policy Considerations: An ISPOR Working Group Report. Value in Health, Volume 28, Issue 2, 175 - 183. 2025
2. スティーヴン・ウルフラム(著), 高橋 聡(訳). ChatGPT の頭の中. ハヤカワ新書.2023
3. Reason, T., Rawlinson, W., Langham, J. et al. Artificial Intelligence to Automate Health Economic Modelling: A Case Study to Evaluate the Potential Application of Large Language Models. PharmacoEconomics Open 8, 191–203 (2024).
4. J. Chhatwal, I.F. Yildirim, D. Balta, et al. Can large language models generate conceptual health economic models? ISPOR <https://www.ispor.org/heor-resources/presentations-database/presentation/intl2024-3898/139128>
5. November 17: AI-Powered HEOR: Advancing Insights and Decisions with Large Language Models - In Person at ISPOR Europe 2024 <https://www.ispor.org/conferences-education/event/2024/11/17/default->

[calendar/november-17--ai-powered-heor--advancing-insights-and-decisions-with-large-language-models---in-person-at-ispor-europe-2024](#)

6. ラブリズマブ(ユルトミリス点滴静注)に 関する公的分析の結果. 保健医療経済評価研究センター. https://c2h.niph.go.jp/results/C2H1903/C2H1903_Report.pdf
7. Elicit. <https://elicit.com/>
8. Use of AI in evidence generation: NICE position statement. https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-research-work/use-of-ai-in-evidence-generation--nice-position-statement?utm_medium=social&utm_source=linkedin&utm_campaign=aiposition

2024 年度厚生労働行政推進調査事業費補助金（政策科学総合研究事業）
「分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論
およびツール等の開発に関する研究」

分担研究報告書

データベース研究のチェックリスト

分担研究者 赤沢学（明治薬科大学）

要旨

データベース研究を客観的に評価するチェックリストを作成し、国内のデータベースを用いた薬剤疫学論文を用いて、そのリストの評価を行った。また、その評価結果によって明らかになった問題点を整理し、チェックリストの改善を行った。

A. 研究目的

リアルワールドエビデンス（RWE）は、臨床試験の補完や代替として、医薬品の安全性や有効性を評価する手段として注目されている。例えば、ランダム化比較試験の実施が難しい希少疾患や難病の領域での医薬品開発において、レジストリデータの使用や外部対照群として活用された事例ある。しかし、データベースの品質、研究プロセスの透明性、因果推論のための分析手法など、解決すべき課題も多い。そのため、米国食品医薬品局（FDA）、欧州医薬品庁（EMA）、英国国立医療技術評価機構（NICE）、カナダの医薬品・医療技術評価庁（CADTH）などは、RWE の生成や活用に関するガイダンスを出している。ISPOR（国際薬剤経済学・アウトカム研究学会）も RWE を重要なトピックとして位置づけており、ISPOR 2024–2025 TOP 10 HEOR TRENDS では、RWE が第一位となっている。

わが国においても、費用対効果評価のために RWE を活用することも考えられている。中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン 2024 年度版によると、RWE を追加的有用性の評価に用いる場合、「レセプトやレジストリーなど既存の大規模なデータベース（リアルワールドデータ）を用いた研究については、研究の質にばらつきがあることから、データベースの性質、国内外における医療環境の差異、変数やイベントの定義、その妥当性やバリデーションの有無、解析手法、日本への結果の外挿可能性等について十分に説明しなければならない。」との記載がある。

今後 RWE をわが国の制度の中で活用していくためには、海外の HTA 機関と同様にガイダンスを作成していくことが重要である。昨年実施した、海外の HTA 機関が作成したガイダンスに含まれるチェックリストを参考に、わが国で活用できるチェックリスト案を作成し、実際の RWE 論文を用いて評価を行ったので、その内容を報告する。

B. 研究方法

1. チェックリスト案の作成

CADTH が作成したチェックリストと観察研究の報告に関するガイドラインである STROBE 声明を参考に、チェックリスト案を作成した。チェックリストは、論文読み次

の内容について、箇条書きにまとめる形式にした。

研究目的

利用したデータベースとその選択理由

対象患者 (P) の定義、選択基準と除外基準

その観察期間 (ルックバック期間)

曝露 (E) と比較対照 (C) の定義

その観察期間

時間依存性の考慮

アウトカム (O) の定義

その観察期間

考慮した交絡因子

その観察期間

未測定 of 交絡因子

バイアスの可能性

その対処方法

2. チェックリスト案の評価

題材として MID-NET のデータを用いた下記の薬剤疫学の論文を使用し、チェックリストを用いて評価を行った。評価対象者は、明治薬科大学の学部学生、大学院生とし、チェックリストに記載されている薬剤疫学に関する講義を受講した後に、課題としてチェックリストを用いた批判的吟味を実施した。

Kei SAGAWA, Atsushi TAKITA, Takuyuki MATSUMOTO, Hirokazu TANABE, Risk of Hypocalcemia with Denosumab in Patients with Rheumatoid Arthritis Based on Data From MID-NET® in Japan, 薬剤疫学 2024;29(2):31-42

3. チェックリストの改善

チェックリストに記載された内容並びにコメントを定性的にまとめた。また、それを参考にチェックリストを改善した。

C. 研究結果

チェックリスト案を用いて、学部学生 4 名、博士課程 (前期) の大学院生 6 名、博士課程 (4 年制) の社会人大学院生 6 名の計 16 名が、課題論文の評価を行った。

その結果、以下のコメントを得た。

- 名前の記入欄が欲しいのと、行数を一つ一つ数えるのが大変なため頁と Abstract や Methods などの分類だけだと理解しやすいです。
- 項目名に「考察:」と書かれているもの以前の項目は、STROBE 声明に則って緒言や方法での記載を確認することでよろしいでしょうか?
- 「研究デザイン」の項目は「目的」の次くらいのほうが入っていきやすいように思いました。

- サブグループ解析、副次的な解析などを含めて「感度分析」の項目に記載してよろしいでしょうか？

また、記載された評価内容より、以下の問題が明らかになった。

- 項目：論文の記載内容の順になっていない、確認事項が重複する、評価ポイントが明確でない
- 該当頁：複数箇所に分かれている
- 具体的内容：評価者のレベルによって大きく異なる、英語の場合、コピー&ペーストになる

コメント並びに問題点を参考に、以下の方針でチェックリストを修正した。

- 論文の掲載順とし、序論、方法、結果、考察に分けて評価する。掲載頁は削除する。
- どのように評価するか、具体的なチェックポイントを明記する。
- 記載は日本語として、要約して記載するよう明記する。
- 全体的な評価する欄を設ける。

作成した「データベース研究のチェックリスト（2025年3月21日版）」を資料として添付した。

D. 考察

作成したチェックリストは、STROBE 声明の項目を中心に、論文を読みながらチェックできる形式にまとめた。このリストを有効に使うことでデータベース研究の質保証が可能なると思われる。一方、費用対効果評価の追加的有用性に用いるためには、評価者の立場で改善が必要であり、このチェックリストは使用目的に応じて必要な項目を追加する必要がある。今後、実際に製薬企業より提出されたデータベース研究の報告書を、評価者自らがこのチェックリストを用いながら評価することで、改善する必要がある。

E. 結論

データベース研究のチェックリストを作成した。追加的有用性の評価の際に活用しながらアップデートしていただきたい。

F. 健康危機情報

特になし

G. 研究発表

特になし

H. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

特になし

2. 実用新案登録

特になし

3. その他

特になし

引用文献

1. ISPOR Top 10 HEOR Trends
<https://www.ispor.org/heor-resources/top-10-heor-trends>
2. NICE real-world evidence framework (6/2022)
<https://www.nice.org.uk/corporate/ecd9/chapter/overview>
3. CADTH Guidance for reporting real-world evidence (5/2023)
<https://www.cda-amc.ca/guidance-reporting-real-world-evidence>
4. 疫学における観察研究の報告の強化 (STROBE 声明) : 観察研究の報告に関するガイドライン <https://www.equator-network.org/wp-content/uploads/2015/10/STROBE-Japanese.pdf>
5. 中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン 2024 年度版 (1/2024) https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_ja_2024.pdf

資料

データベース研究のチェックリスト (2025 年 3 月 21 日版) エクセル

データベース研究のチェックリスト			作成日：2025年3月21日		
論文タイトル					
評価者名					
評価日					
項目	確認内容	具体的な内容（日本語で箇条書きで要約すること）	評価・コメント		
緒言	背景	研究の必要性等は明確か			
	目的	PECOで要約出来るか			
		研究仮説は明確か			
方法	プロトコール	事前登録を行っているか			
	研究デザイン	明確になっているか			
	データベース	名称や使用期間は			
		特徴や選択した理由は			
		目的に合致した集団は含まれるか			
		目的に合致した変数定義が可能か			
	研究対象	明確に文章で定義されているか			
		選択基準は何か			
		除外基準は何か			
		症例数とその根拠			
変数	対象選択のバリデーションは				
	薬剤曝露は何か				
	定義、観察時間、測定方法は				
	比較対照は何か				
	定義、観察時間、測定方法は				
	アウトカムは何か				
	定義、観察時間、測定方法は				
	交絡因子は何か				
	定義、観察時間、測定方法は				
	変数定義のバリデーションは				
バイアス	選択バイアスの可能性				
	その対処方法				
	測定バイアスの可能性				
	その対処方法				
統計解析	主要解析				
	副次的解析				
	その他記述解析				
	層別解析				
	感度分析				
	その他、手法について				
研究登録・公開	研究計画の事前登録・公開あるか				
研究倫理	倫理審査や同意取得				
考察	結果	目的あった結果要約			
	研究の強み	先行研究と比較して			
		研究の弱み	データベース選択の妥当性		
			データベースに含まれない集団		
			データベースで定義できない変数		
			対処できなかったバイアス		
			欠損や誤分類の影響		
			未測定交絡の影響		
			一般化可能性		
			その他の問題点		
研究の弱みが評価に与える影響					
結果解釈の注意点					
総評					

令和5年度厚生労働政策科学総合研究事業分担研究報告書
費用対効果評価制度における公的介護費用の取り扱いについて

研究分担者 大寺 祥佑
所属 国立長寿医療研究センター研究所

研究協力者 高士 直己
所属 国立長寿医療研究センター研究所
藤澤 岬
所属 国立長寿医療研究センター研究所
岩本 哲哉
所属 国立保健医療科学院

研究要旨

目的 NDB と介護 DB をデータ源とし、提供先番号と ID4 の突合の状況を評価し、今後の認知症患者の介護費用推計のための基礎資料を作成すること。

方法 NDB と介護 DB の第三者提供データを用いて、介護 DB 受給者台帳情報に含まれる提供先番号と ID4 の突合状況の評価、及び NDB 内の ID4 と介護 DB 内の ID4 の連結状況の評価を実施した。

結果 介護 DB の受給者台帳情報内において、提供先番号 7,720,847 件のうち約 77% が ID4 と突合可能であった。さらに 2021 年 3 月の単月のレコードにおいて、提供先番号と突合可能な ID4 のうち NDB 医科レセプトと連結するのが約 62%、DCP レセプトと連結するのは約 3%、調剤レセプトと連結するのは約 37% であった。また 2020 年度における通年のレコードでは、NDB 医科レセプトとの連結は約 78%、DCP レセプトとの連結は約 18%、調剤レセプトとの連結は約 57% であった。

結論 ID4 による NDB と介護 DB の連結が一定程度は可能であることが示唆された。ただし今回の検証では ID4 における複数紐付けや連結途切れなどの潜在的な問題に関する検証が行えていない。そのため NDB・介護 DB 連結データの活用のためには、さらに詳細な検証が必要である。

A. 研究目的

2023 年 8 月、厚生労働省はアルツハイマー病による軽度認知障害及び軽度の認知症の進行抑制のための新薬レカネマブを承認した。中央社会保険医療協議会は薬価算定に先立ち薬価算定方法等を検討し、「認知症に対する治療薬は介護費用の軽減に資する可能性があり市場規模が大きくなる可能性があることから、既存のルールを基本としつつ、特例的な対応を行うことが適切である」と報告している

(1)。この特例的な対応では介護費用の取扱につ

いて言及がなされており、分析ガイドラインに則って費用対効果分析が行われること、介護費用を含めた場合と含めない場合の総合評価案が策定されることが明記されている (1)。

認知症患者の介護費用はレセプト情報・特定健診等情報データベース (NDB) や介護保険総合データベース (介護 DB) を用いて推計を行う必要があるが、これには課題が存在する。加藤の報告では NDB、介護 DB 双方に認知症の同定に関連するデータが存在するものの、①NDB の傷病名、医薬品の情報

では α エラー（拾いすぎ）、②介護 DB の要介護認定情報では β エラー（見逃し）が課題となる可能性が指摘されている（2）。現在、NDB と介護 DB は連結可能となっているが、それがこれらの課題に対するブレークスルーとなるのかは不明である。実際、加藤は「評価・分析を行う前に、こういった事例を「認知症事例」として評価するののかについて、かなり厳密に方針を立てて臨む必要がある」と述べている（2）。

加えて、NDB と介護 DB 連結精度について十分な評価が行われていないという課題もある。現在 NDB と介護 DB には ID4（2020 年 10 月から運用開始）と ID5（2022 年 4 月から運用開始）という連結のための識別子が含まれている。前者はカナ氏名・生年月日・性別由来のハッシュ値であり、後者は最古の個人単位被保険者番号のハッシュ値となっている

（3）。これら連結のための識別子は運用が開始されてから間もないため、連結精度に関する知見が十分に構築されているとは言い難い。

国立長寿医療研究センターで利用可能な介護 DB 第三者提供データの受給者台帳情報内には ID4 が付与されている。ID4 は介護 DB の中で提供先番号（介護保険被保険者番号等由来の個人 ID）との紐付けが可能である。なお、ID4 が含まれるテーブルは提供申出ごとに異なる。

本研究ではこの NDB と介護 DB を利用し、提供先番号と ID4 の突合の状況の評価し、今後の認知症患者の介護費用推計のための基礎資料を作成することを目的とする。

B. 研究方法

本研究では NDB の RE レコード、および介護 DB の受給者台帳情報をデータ源として以下の二つの検証を実施した。

1. 介護 DB の受給者台帳情報に含まれる提供先番号と ID4 がどの程度突合するか検証する。
2. 受給者台帳情報に含まれる「提供先番号と突合可能な ID4」が NDB の ID4 とどの程度連結するかどうか、2021 年 3 月の単月データおよび

2020 年度の単年度のデータを用いて検証する。

なお、「提供先番号」は介護 DB 内の個人識別子であり、要介護認定情報や給付実績情報など、DB 内の各種情報間での突合に利用される。データの構造については図 1 を参照されたい。

当該申出に関連するデータ分析は国立保健医療科学院の研究倫理委員会にて承認を受けている（No.798）。

C. 研究結果

検証の結果、介護 DB の受給者台帳情報に含まれる提供先番号 7,720,847 件のうち約 77% が ID4 と突合可能であった。

2021 年 3 月の単月のレコードにおいて、この「提供先番号と突合可能な ID4」のうち NDB 医科レセプトと連結するのが約 62%、DCP レセプトと連結するのは約 3%、調剤レセプトと連結するのは約 37% であった（表 1）。

さらに 2020 年度のレコードでは、NDB 医科レセプトと連結するのは約 78%、DCP レセプトと連結するのは約 18%、調剤レセプトと連結するのは約 57% であった（表 2）。

D. 考察

今回の検証において、ID4 を用いた NDB と介護 DB の連結が一定程度は可能であることが示唆された。NDB と介護 DB の連結データを用いることにより、費用対効果評価における介護費用推計の妥当性が高まる可能性がある。特に連結データは、介護 DB 単独では把握できない傷病名や診療行為、医薬品の情報による疾患の特定に寄与することが期待できる。

しかし、ID4 はカナ氏名・生年月日・性別由来のハッシュ値であるため、潜在的に以下の問題を孕んでいる：①同姓同名同性別同生年月日による複数紐付けの問題、②結婚・離婚などで姓が変わることでの連結切れ、など（2）。さらに介護保険被保険者が保険者をまたぐ転居した場合、提供先番号が変わるため、同一の ID4 に複数の提供先番号が連結される可能性もある。こうした課題は今回の検証では取り扱うことができなかったため、今後、提供先番号と ID4 の詳細な関係性（1 : n、n : 1、n : n）について評価を行う必要があると考える。

さらに、対象者が医療保険と介護保険を移動する際（またはその逆）の追跡可能性についても検証を行う必要がある。一般的に高齢者は入院などを契機に医療サービスと介護サービスの間を頻繁に移行し、Patient Journey が複雑になる可能性がある。こうした場合にどの程度正確に追跡が可能なのか、またその際の適切な日付データの選択方法など検証していく必要があると考えられる。

E. 結論

本研究では NDB の RE レコード、および介護 DB の受給者台帳情報を用いて、提供先番号と ID4 の突合可能性の検証、及び ID4 を用いた NDB と介護 DB の連結可能性の検証を実施した。その結果、ID4 を用いた NDB と介護 DB の連結が一定程度は可能であることが示唆された。ただし NDB と介護 DB の連結については、さらに詳細な検証が必要である。

F. 健康危険情報

特になし

G. 研究発表

特になし

H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

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

参考文献

- (1) 中央社会保険医療協議会. レケンビに対する費用対効果評価について. 令和 5 年 12 月 13 日. [<https://www.mhlw.go.jp/content/001179940.pdf>]
- (2) 加藤源太. NDB・介護 DB 連結データ分析の特徴. 中医協 薬費-2 5. 10. 27. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001161706.pdf>]
- (3) 厚生労働省老健局老人保健課. 今後の介護 DB と他の DB との連結について. 第 9 回匿名医療・介護情報等の提供に関する委員会. 令和 4 年 9 月 29 日. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12301000/000995137.pdf>]

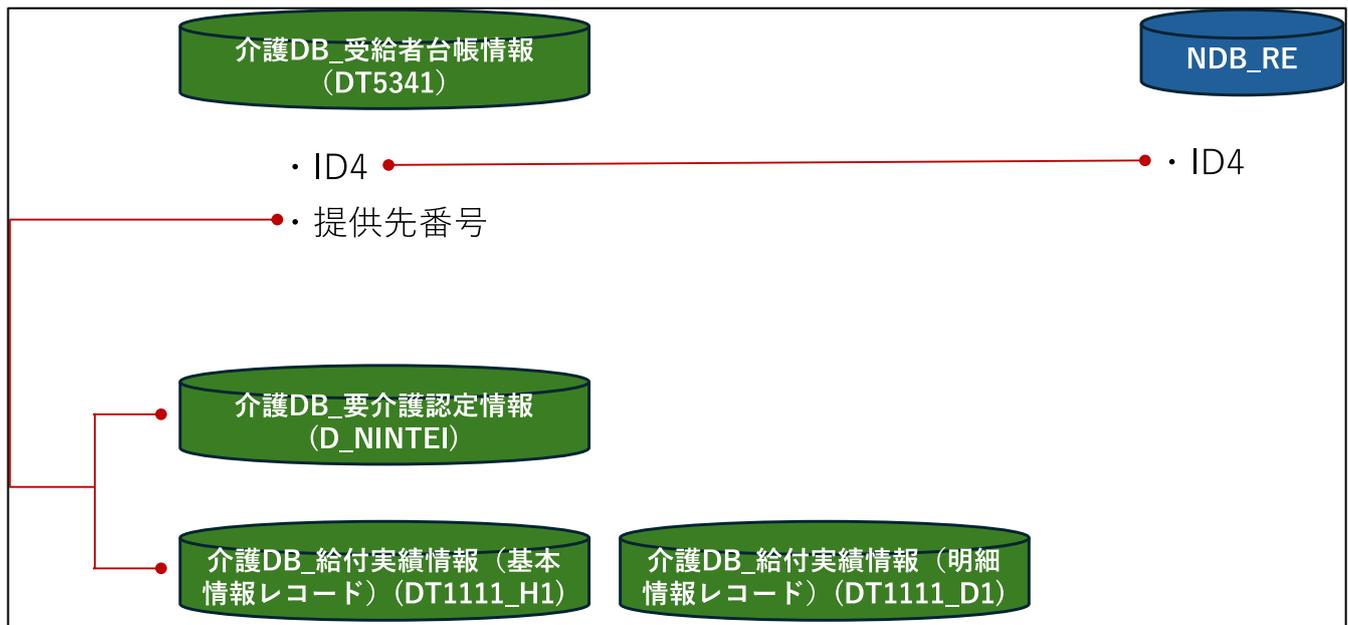


図 1. データの構造

表 1. 「提供先番号と突合可能な ID4」と NDB における ID4 の連結の程度 (単月)

REレコードのユニークなID4 (2021年3月)	DT5341のユニークなID4	REレコードのユニークなID4 (2021年3月)と突合可能なDT5341のID4のレコード数	DT5341のユニークなID4に占める割合
医科：23,817,981 DPC：610,570 調剤：14,899,155	7,720,847	医科：4,767,230 DPC：216,013 調剤：2,841,275	医科：0.617 DPC：0.028 調剤：0.368

厚生労働省より提供された「介護保険総合データベース」の特別抽出を利用 (参考) 厚生労働省「匿名介護保険等関連情報データベースの利用に関するガイドライン」p.1

表 2. 「提供先番号と突合可能な ID4」と NDB における ID4 の連結の程度 (単年度)

REレコードのユニークなID4 (2020年度)	DT5341のユニークなID4	REレコードのユニークなID4 (2020年度)と突合可能なDT5341のID4のレコード数	DT5341のユニークなID4に占める割合
医科：30,427,519 DPC：3,844,283 調剤：22,964,764	7,720,847	医科：5,980,291 DPC：1,370,013 調剤：4,369,803	医科：0.775 DPC：0.177 調剤：0.566

厚生労働省より提供された「介護保険総合データベース」の特別抽出を利用 (参考) 厚生労働省「匿名介護保険等関連情報データベースの利用に関するガイドライン」p.1

令和6年度厚生労働行政推進調査事業費補助金分担研究報告書
「医薬品・医療機器等の費用対効果評価における分析ガイドラインの改定に資する研究」
NDBを用いた治療エピソードの抽出方法について

研究分担者 佐藤大介 藤田医科大学大学院医学研究科 病院経営学・管理学

研究要旨

本研究は、費用対効果評価制度に基づき、新規治療薬に対する比較対照医薬品を国のナショナルデータベース（NDB）を用いて選定する方法の確立を目的とする。わが国における費用対効果評価制度において、国内ガイドラインでは「公的医療の立場」からの分析が求められており、実臨床を反映するデータとしてレセプト情報の活用が推奨されている。そこで本研究では、診療エピソードの推移から対象医薬品の使用に伴って変化する医薬品や診療行為の資料資源投入量から、比較対照医薬品を推定する方法を検討する。

本研究の分析対象は健康状態が原則として不可逆かつ過去の先行研究において抽出経験のある疾患としてパーキンソン病を選定し、新規治療薬レボドパ・カルビドパ配合経腸用液（LCIG）を研究対象に分析を実施した。

分析方法は、パーキンソン病患者の治療エピソードをレセプト情報から抽出した。LCIG群とパーキンソン病患者全体を比較し、年齢階級別の医療費・合併症発生率などを集計した。その結果、LCIG群では入院外医療費がDBS群より3～4倍高額であることが判明したものの、骨折・誤嚥性肺炎・精神疾患の発生率や在院日数には大きな差がなかったことが明らかとなった。

さらに治療エピソードを時系列で集計した結果、パーキンソン病の患者全体では、治療期間にバラツキがみられるものの、健康状態の悪化に伴って医薬品費が漸増していくが、在宅医療の医療資源投入量が始まり漸増すると医薬品の処方量が減少する傾向がみられた。一方、新規治療薬であるLCIG群では医薬品費が高位で推移し続け、在宅医療費はあまり変動しない特徴が明らかとなった。

本研究は、NDBを用いた比較対照群の選定手法が実践可能であることを示し、今後の費用対効果評価に資する手法の基盤を提示した。しかしながら、新規治療薬の使用患者数が少なく対象患者の偏りや比較対照医薬品を同定するためのサブ解析等、分析上の課題も指摘された。本研究の基礎的分析を踏まえ、サブ解析方法および対象医薬品の拡充ならびに過去に費用対効果評価の対象となった薬剤群での妥当性検証を通じて、レセプト情報データベースから比較対照医薬品を推定するための実用的な手法の確立し、ガイドラインへ提案が求められる。

A. 研究目的

医薬品・医療機器の一部に対する費用対効果評価制度の導入以降、公的分析プロセスおよび分析方法については、2024年1月27日中医協総会了承の

「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第4版」にて定められている。特に費用の算出について「公的医療の立場」において公的医療費のみを費用に含めることとし、各健康状態の費用は、評価対象技術によって直接影響を受ける関連医療費のみを含めること、各健康状態の費用の推計においては、日本における平均的な使用量

や標準的な診療過程等が反映することから、実臨床を反映した国内におけるレセプトのデータベースを用いることを推奨することが定めている。

我が国では中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン、医薬品及び医療機器の費用対効果評価に係る分析結果の記載様式と手引が整備されており、本制度の運用にあたっては、共同解析計画書の記載様式およびレセプト情報等を用いた費用データ算出に係るチェック項目について研究を進めてきた。

本研究はガイドラインや指針等を基に、現在 C2H が保有する NDB を用いて、対象品目に対する比較対照集団を選定する方法を確立することを目的とする。

B. 研究方法

本研究では、国立保健医療科学院 保健医療経済研究センターで、これまで取り組んできたレセプト情報データベースを対象に、対象とする疾患の新規治療薬による患者の治療経過（以下、「エピソード」という）の変化を抽出・評価する。ここから、新規治療に置き換わった既存治療を推計し、比較対照集団の選び方等の手法を検討することで、現在運用されている NDB のさらなる活用方法に資する手法を提示する。

本研究では対象疾患として、費用対効果評価制度で対象となった品目ではなく、かつエピソードの変化で比較可能性のあるパーキンソン病を対象疾患とする。具体的には、2016年9月承認、2021年6月時点（発売から4年9カ月）で累計症例数1046例が見込まれる LCIG（レボドパ・カルビドパ配合経腸用液療法）を対象治療薬に設定する。分析手順は、令和5年度報告書の NDB（レセプト情報・特定健診等情報データベース）解析手順書に基づき行う。

（分析方法）

B-1. 抽出条件

- ・ NDB でパーキンソン病（G20.x）（疑い病名を除く）が出現するレセプトを有する患者の全ての DPC レセプト、医科レセプト（入院・入院外）および当該医療機関と同一の医療機関コードからふり出された処方せんを調剤した薬局の調剤レセプトがあり、かつ LED 換算値 > 0 の診療年月を初月「1」とし、以降の月を初月から n カ月目とする。
- ・ 初月から分析期間における入院・入院外のレセプトを1エピソードとして、患者単位で抽出する。

B-2. 変数定義

別紙「変数定義書」の通りとする。

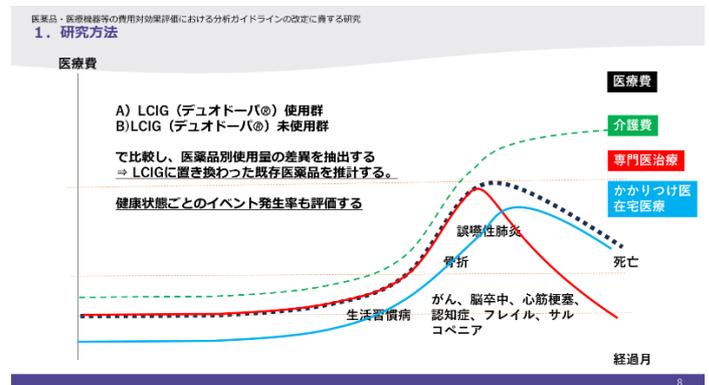
B-3. 健康状態

LED 換算値（Levodopa-equivalent dose：医薬品に含まれるレボドパ量が多いほど健康状態が悪い（パーキンソン病が進行している代替指標））を基に、軽症・中等症・重症・死亡に分類する。

B-4. 解析方法

記述疫学的研究、時系列分析にて集計・分析する。パーキンソン病患者の医薬品処方量および在宅医療の医療資源使用量を診療報酬点数の単価と回数の合計点数を医療費換算した値を「医療費」とし、時系列分析を行う。

記述統計においては、パーキンソン病患者全体の場
合、分析対象者のバラつきが大きいことから、比較
対照群として脳深部刺激療法群（DBS 群）を作成
し、イベント発生割合等について比較分析する。
時系列データでによる集計は1）パーキンソン病入
院患者全体と2）パーキンソン病入院患者で LCIG
を処方された患者群の2群でそれぞれ行う。



（倫理面への配慮）

本研究は国立保健医療科学院 保険医療経済評価研究センターが保有する NDB（レセプト情報・特定健診等情報データベース）を用いて実施するため、第三者提供マニュアル（ガイドライン第3版）に従い行う。

C. 研究結果

変数定義書に基づき、データ抽出・加工・集計を実施した。

【集計1】

パーキンソン病入院患者のうち、デュオドーパ配合経腸用液群（LCIG 群）と脳深部刺激療法群（DBS 群）を年齢階級別に比較し、骨折・誤嚥性肺炎・精神疾患のイベント発生数および医療費の内訳に関する記述統計量を集計した。（表1）

LCIG 群は DBS 群と比べて、新規治療薬であることから対象患者数が少なく、85歳以上の症例が10未満であることが確認された。骨折・誤嚥性肺炎・精神疾患のイベント発生割合は両群の間に差は見られなかった。にもかかわらず LCIG 群の入院外医療費の平均値は、DBS 群に比べて全年齢階級において3～4倍と高額であった。入院医療費および在院日数の平均値には両群との間に差は見られなかった。

【集計2】パーキンソン病患者の医薬品処方量および在宅医療の医療資源使用量を医療費換算し、病名が付与かつ関連医薬品が処方された診療年月時点を初月とし、時系列で当該医療費の推移を集計した。

パーキンソン病入院患者全体では、パーキンソン病の診断以降、アゴニスト系医薬品もしくはレボドパ系医薬品の関連医療費が時間の経過とともに増加傾向となった。診断初月から90か月までの期間における治療戦略を見ると、アゴニスト系医薬品が主たる治療戦略として投薬され、健康状態が推移して

いくに従って処方量は減少傾向が続き、終末期と思われる期間からは、在宅医療関連医療費が投入されるとともにアゴニスト系医薬品医療費が減少する傾向となった。(図1)

一方、治療期間が長期におよぶ患者(治療開始から170か月以上)については、患者の病態や医師の処方判断によってLDOPA系医薬品とアゴニスト系医薬品が混在するが、健康状態が推移するにつれ、在宅医療関連医療費が増加するに伴い、両医薬品の使用量は減少する結果となった。(図2)

また、LCIG群はパーキンソン病の診断以降、LCIGを含むレポドパ関連医薬品費の医療費が最も高く推移した。健康状態が推移するにつれ、在宅医療関連医療費はやや増加し、LDOPA系医薬品とアゴニスト系医薬品は減少した。しかしながら、LCIGを含むレポドパ関連医薬品費の医療費はほとんど変化しなかった。(図3)

D. 考察

本研究はガイドラインや指針等を基に、現在C2Hが保有するNDBを用いて、対象品目に対する比較対照集団を選定する方法を確立するために、パーキンソン病入院患者を対象に、新規治療薬であるLCIGの比較対照治療法を同定する方法について検討を行った。

分析の結果、分析対象とする患者やレセプトの抽出条件や分析方法については、ガイドラインに沿った手法が実践可能であることを確認した。

分析対象集団の集計および群間比較を行い、時系列データで分析することで、医療資源使用量の変化を抽出することができ、比較対照医薬品や診療行為の候補を選定する方法を確認した。本研究の対象疾患であるパーキンソン病患者に対するLCIGの場合、在宅医療関連医療費ではなく薬物療法が継続される傾向にあることが示唆された。これはLCIGを治療法として選択する患者が、同成分である医薬品により治療していたため、LDOPA系医薬品もしくはアゴニスト系医薬品と入れ替わった可能性が示唆される。しかしながら、健康状態が推移しても在宅医療関連医療費は微増であったことから、LCIGの比較対照は、健康状態が推移してもLDOPA系医薬品とアゴニスト系医薬品のいずれかとすることが妥当であると推測できる。パーキンソン病のように治療戦略が複数ある新規治療薬に対する比較対照の選定にあたっては、レセプト情報データベースを用いることの有効性が示唆された。この結果を踏まえて、最もLCIGと入れ替わった医薬品を同定するためには、薬物療法から特定の医薬品単位で詳細な分析を行うことで、比較対照医薬品を推定することができる可能性を示した。

加えて、費用対効果評価制度が対象品目とする新規治療薬は実臨床において対象患者が少ない場合が多い。特に85歳以上のような超高齢の患者につい

ては10未満になる可能性が考えられる。その場合の比較対照医薬品の選定にあたっては年齢階級区分の考え方について十分に検討する必要がある。

今後、分析対象医薬品を同定する手法を確立するために、対象疾患や医薬品を拡充し検証を進めることが必要である。たとえば過去に費用対効果評価制度において評価対象となった医薬品を対象に、レセプト情報データベースで選定した比較対照薬と実際の比較対照薬を検証する方法も有効であろう。

E. 結論

本研究は、国立保健医療科学院が保有するNDBを用いて、新規治療薬の比較対照医薬品を選定する方法の基礎的手法を明らかにすることができた。さらなる手法の確立を目指すためには、過去に費用対効果評価制度で評価対象品目となった医薬品について、レセプト情報データベースで同定した比較対照薬と実際の比較対照薬を検証が有効である。

F. 健康危険情報

特になし

G. 研究発表

1. 論文発表

H. 知的財産権の出願・登録状況(予定を含む。)

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

図1 パーキンソン病入院患者の治療期間別・治療戦略別の医療費推移
(治療期間90か月以内)

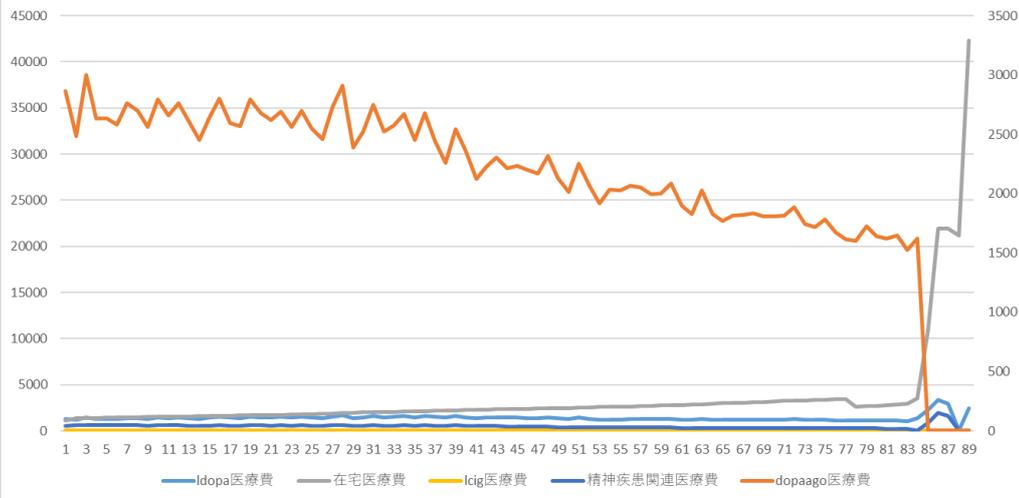


図2 パーキンソン病入院患者の治療期間別・治療戦略別の医療費推移
(治療期間170か月以上)

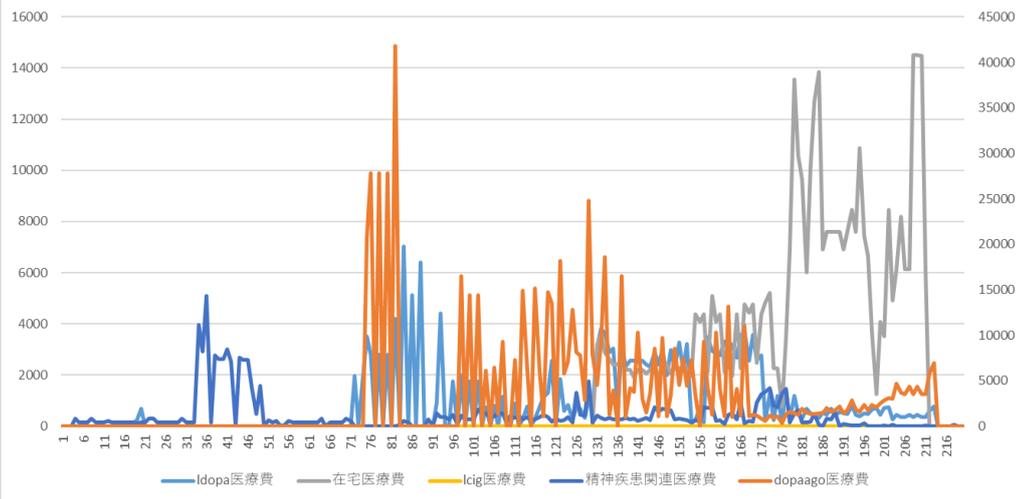
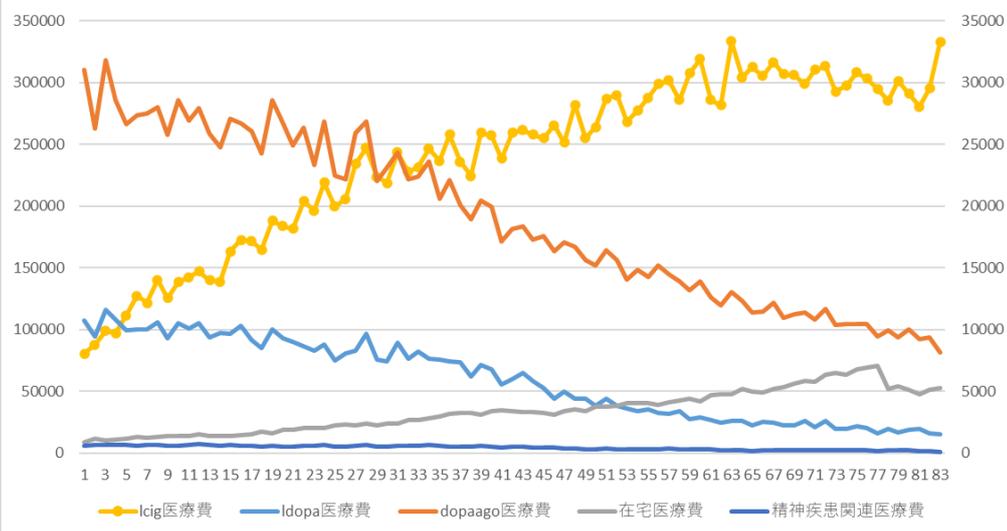


図3 LCI群における治療期間別・治療戦略別の医療費推移
(LCIG医療費は第1軸、それ以外は第2軸)



	デュオドーパ配合経腸用液群(LCIG群)				脳深部刺激療法群(DBS群)			
	45～64歳	65-74歳	75-84歳	85歳以上	45～64歳	65-74歳	75-84歳	85歳以上
レセプト件数	89,558	122,179	50,861	1,829	359,605	543,404	203,176	13,809
患者数	492	628	260	-	2,037	2,835	1,089	72
骨折を発症した患者数	73	193	102	-	313	759	362	32
誤嚥性肺炎を発症した患者数	144	275	152	-	373	963	562	37
精神疾患の診断がついた患者数	224	264	105	-	725	979	374	25
精神疾患関連医薬品の処方レセプト件数	9,236	9,780	3,327	180	24,765	32,576	12,710	642
患者数一人当たり精神疾患医薬品レセプト件数	41	37	31	45	34	33	33	25
入院外医療費の平均値	24,859,962	21,472,029	16,967,552	10,177,376	6,564,910	6,476,367	5,517,920	4,485,471
入院期間中における診療日数の平均値	31	33	37	57	29	36	44	51
入院医療費の平均値	1,395,399	1,448,835	1,523,746	2,081,954	1,878,709	1,933,543	2,030,047	2,177,253
在宅医療費の平均値	1,695,114	1,668,482	1,782,464	1,066,010	1,381,775	1,331,808	1,327,815	1,420,960
骨折の関連医療費（入院医療費）の平均値	2,705,673	2,109,913	1,998,717	1,200,103	1,643,464	2,020,307	2,037,608	2,702,113
誤嚥性肺炎の関連医療費（入院医療費）の平均値	2,398,365	1,975,198	2,017,453	2,009,296	1,847,368	1,928,720	1,708,026	1,080,795

表1 デュオドーパ配合経腸用液群(LCIG群)と脳深部刺激療法群(DBS群)のイベント発生率

分析用データセット変数定義書

変数名は小文字
英数字

ラベル名	レコード	定義
rid	REC	レセプト通番
sid1	REC	疾患用テーブルのsID1
sid2	REC	疾患用テーブルのsID2
ptid	REC	疾患用テーブルのptid
month	REC	診療年月/処方年月
age	REC	レセプトに記載された診療年月時点の年齢階級
sex	REC	レセプトに記載された診療年月時点の性別
nyuin	REC	入院レセプトの場合は入院年月。外来、調剤レセプトの場合は欠損値
death	REC	レセプトに記載された転帰 = 死亡の場合はその診療年月
tentotal	REC	HOレコードに記載された合計点数
days	REC	医科レセプト、DPCレセプトの場合はHOレコードに記載された診療実日数。調剤レセプトの場合は欠損値
admid	ADM	入院レセプトの場合は入院ID。外来、調剤レセプトの場合は欠損値
recekind	REC	レセプト区分 (1: 医科 2: DPC 4: 調剤)
irkid	REC	医療機関ID
calckind		集計区分 (1: 入院期間中 2: 入院外)
pd	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病フラグは問わない) に記載された傷病名コードのうち、別表「パーキンソン病」の傷病名コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
pdf	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病フラグは問わない) に記載された傷病名コードのうち、別表「家族性パーキンソン病」の傷病名コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
pdfy	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病フラグは問わない) に記載された傷病名コードのうち、別表「若年性パーキンソン病」の傷病名コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
dopa_ago	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表IYA_DOPA_AGOの医薬品コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
ldopa	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表IYA_ldopaの医薬品コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
Flacture_syo	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのsyレコードに記載された傷病名コードのうち、「別表flacture(SYO)」の傷病名コードが対応するレセプトを1とする。それ以外は0とする。
Flacture_sin	SIN	DPCレセプト・医科レセプトのSIレコードに記載された診療行為コードのうち、「別表flacture(SIN)」の診療行為コードが対応するレセプトを1とする。それ以外は0とする。
Pneumonia_main	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病のみ) に記載された傷病名コードのうち、別表Pneumoniaの傷病名コードが対応するレセプトを1とする。それ以外は0とする。
Pneumonia	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病フラグは問わない) に記載された傷病名コードのうち、別表Pneumoniaの傷病名コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
zaitaku	SIN	医科レセプトのSIレコードに記載された診療行為コードのうち、別表zaitakuの診療行為コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
ldopa_val	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表lepodopa_valのレポドパ換算値の合計スコアを記載する。
mild_levodopa_resi	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表lepodopa_valのレポドパ換算値の合計スコアが600未満のレセプトを1、それ以外は0とする。
severe_levodopa_resistant	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表lepodopa_valのレポドパ換算値の合計スコアが600以上のレセプトを1、それ以外は0とする。
LCIG	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表デュオドーナ(配合経腸用液群(LCIG群)の医薬品コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
DBSG	SIN, TOK	DPCレセプト・医科レセプトのSI, TOレコードに記載された医薬品コードのうち、別表脳深部刺激療法群(DBSG群)の診療行為コードまたは特定器材コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
MENTAL_SYO	SYO	DPCレセプト・医科レセプトのSYレコード (主傷病フラグは問わない) に記載された傷病名コードのうち、別表「精神疾患」の傷病名コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
MENTAL_IYA	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された医薬品コードのうち、別表「精神疾患」の医薬品コードが対応するレセプトを1、それ以外は0とする。
sum_ldopa	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された、別表IYA_LDOPAの医薬品コードに該当する単価x処方量の合計
sum_dopa_ago	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された、別表別表IYA_DOPA_AGOの医薬品コードに該当する単価x処方量の合計
sum_flacture_sin	SIN	DPCレセプト・医科レセプトのSIレコードに記載された、「別表flacture(SIN)」の診療行為コードに該当する単価x回数
sum_zaitaku	SIN	DPCレセプト・医科レセプトのSIレコードに記載された、「別表zaitaku」の診療行為コードに該当する単価x回数
sum_lcig	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された、別表LCIGの医薬品コードに該当する単価x処方量の合計
sum_mental	IYA	DPCレセプト・医科レセプト・調剤レセプトのIYレコードに記載された、別表デュオドーナ(配合経腸用液群(LCIG群)の医薬品コードに該当する単価x処方量の合計

結果表イメージ

	デュオドーパ配合経腸用液群(LCIG群)					脳深部刺激療法群(DBS群)					←年齢区分は別途検討
	40-64歳	65歳未満	65-75歳	75-84歳	85歳以上	40-64歳	65歳未満	65-75歳	75-84歳	85歳以上	
レセプト件数											
患者数											
骨折を発症した患者数											
誤嚥性肺炎を発症した患者数											
精神疾患の診断がついた患者数											
精神疾患関連医薬品の処方レセプト件数											
患者数一人当たり精神疾患医薬品レセプト件数											
入院外医療費の平均値											
入院期間中における診療日数の平均値											
入院医療費の平均値											
在宅医療費の平均値											
骨折の関連医療費（入院医療費）											
誤嚥性肺炎の関連医療費（入院医療費）											

【解析対象疾患】パーキンソン病（G20）

変数名	ICD10	標準化傷病コード	傷病名
pd	G20	8843950 01	パーキンソン病Y a h r 1
pd	G20	8843951 01	パーキンソン病Y a h r 2
pd	G20	8843952 01	パーキンソン病Y a h r 3
pd	G20	8843953 01	パーキンソン病Y a h r 4
pd	G20	8843954 01	パーキンソン病Y a h r 5
pd	G20	3320002 01	パーキンソン病
pd	G20	8845602 01	パーキンソン病の認知症

【解析対象疾患】家族性パーキンソン病（G20）

変数名	ICD10	標準化傷病コード	傷病名
pdf	G20	8843850 02	家族性パーキンソン病Y a h r 1
pdf	G20	8843851 02	家族性パーキンソン病Y a h r 2
pdf	G20	8843852 02	家族性パーキンソン病Y a h r 3
pdf	G20	8843853 02	家族性パーキンソン病Y a h r 4
pdf	G20	8843854 02	家族性パーキンソン病Y a h r 5
pdf	G20	8842319 02	家族性パーキンソン病

【解析対象疾患】若年性パーキンソン病（G20）

変数名	ICD10	標準化傷病コード	傷病名
pdy	G20	8846157 03	若年性パーキンソン病Y a h r 3
pdy	G20	8846158 03	若年性パーキンソン病Y a h r 4
pdy	G20	8846159 03	若年性パーキンソン病Y a h r 5
pdy	G20	8846156 03	若年性パーキンソン病

デュオドーパ配合経腸用液群(LCIG群)

変数	医薬品コード	医薬品名称
LCIG	622509401	デュオドーパ配合経腸用液 100mL

脳深部刺激療法群(DBS群)

変数	医薬品コード	医薬品名称
DBS	150255110	脳刺激装置植込術（片側）
DBS	150315010	脳刺激装置植込術（両側）
DBS	726130000	脳深部刺激装置用リードセット（4極用）
DBS	710010047	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去用）（8極用）
DBS	710010602	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去用）（16極以上用）
DBS	710010612	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去・16極・充電）
DBS	710010643	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去・16極・充・変換）
DBS	710010687	植込型脳・脊髄電気刺激装置（振戦軽減・16極以上・充電）
DBS	710010888	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛・32極・充電）
DBS	710011012	植込型脳・脊髄電気刺激装置（振戦軽減用）（16極以上用）
DBS	710011110	植込型脳・脊髄電気刺激装置（振戦軽減・16極以上・自動調整付き）
DBS	710011130	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去・16極・変換）
DBS	732060000	植込型脳・脊髄電気刺激装置（疼痛除去用）（4極用）
DBS	732070000	植込型脳・脊髄電気刺激装置（振戦軽減用）（4極用）

[status] IYA_idopa_dopaago

数量	医薬品コード	医薬品名称
ldopa	620008660	ドバトンカプセル250mg
ldopa	620008661	ドバトン錠98.5%
ldopa	620008889	ドバトン静注25mg
ldopa	620008890	ドバトン静注50mg
ldopa	620008662	ドバソール錠200mg
ldopa	622509401	デュオドバ配合経眼液
ldopa	620123901	ネオドバトン配合錠L100
ldopa	620124501	ネオドバトン配合錠L250
ldopa	620124001	メネシット配合錠100
ldopa	620124601	メネシット配合錠250
ldopa	620124101	カルコーバ配合錠L100
ldopa	622059801	カルコーバ配合錠L250
ldopa	621865201	ドバコール配合錠L50
ldopa	620124201	ドバコール配合錠L100
ldopa	622080201	ドバコール配合錠L250
ldopa	620124301	ハーキストン配合錠L100
ldopa	622051301	ハーキストン配合錠L250
ldopa	620124401	レブリントン配合錠L100
ldopa	622067101	レブリントン配合錠L250
ldopa	620123601	イーシュー・ドバール配合錠
ldopa	620123701	ネオドバソール配合錠
ldopa	620123801	マドバール配合錠
ldopa	622375701	スタレホ配合錠 L 5 0
ldopa	622375801	スタレホ配合錠 L 1 0 0
dopa_ago	620008688	パロチド錠 2. 5mg
dopa_ago	620008579	アプロピド錠 2. 5mg
dopa_ago	620121101	バロチン錠 2. 5mg
dopa_ago	620006743	プロモクリプチンメシル酸塩 2. 5mg 錠
dopa_ago	620121401	プロモクリプチン錠 2. 5mg 「F」
dopa_ago	620121701	プロモクリプチン錠 2. 5mg 「トーウ」
dopa_ago	620121802	プロモクリプチン錠 2. 5mg 「ワソ」
dopa_ago	620121904	プロモクリプチン錠 2. 5mg 「TCK」
dopa_ago	620122001	プロモクリプチンメシル酸塩錠 2. 5mg 「アメル」
dopa_ago	610406392	セルマックス錠 5 0μg
dopa_ago	610406393	セルマックス錠 2 5 0μg
dopa_ago	620002124	ベセラール錠 5 0μg
dopa_ago	620002125	ベセラール錠 2 5 0μg
dopa_ago	620002857	メシル酸ベルゴリド錠 5 0μg 「アメル」
dopa_ago	620002858	メシル酸ベルゴリド錠 2 5 0μg 「アメル」
dopa_ago	620004067	ベルゴリド錠 5 0μg 「サワイ」
dopa_ago	620004068	ベルゴリド錠 2 5 0μg 「サワイ」
dopa_ago	621642002	ベルゴリド錠 5 0μg 「ファイザー」
dopa_ago	621642103	ベルゴリド錠 2 5 0μg 「ファイザー」
dopa_ago	610432023	カバサル錠 0. 2 5mg
dopa_ago	610432024	カバサル錠 1. 0 mg 1 mg
dopa_ago	620005369	カベルゴリン錠 0. 2 5mg 「F」
dopa_ago	620005371	カベルゴリン錠 0. 2 5mg 「サワイ」
dopa_ago	620005372	カベルゴリン錠 0. 2 5mg 「トーウ」
dopa_ago	620005373	カベルゴリン錠 0. 2 5mg 「ワソ」
dopa_ago	620005374	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「F」 1 mg
dopa_ago	620005375	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「サワイ」 1 mg
dopa_ago	620005376	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「トーウ」 1 mg
dopa_ago	620005377	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「ワソ」 1 mg
dopa_ago	620005378	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「トーウ」 1 mg
dopa_ago	622069601	ミラベックス L A 錠 0. 3 7 5 mg
dopa_ago	622069701	ミラベックス L A 錠 1. 5 mg
dopa_ago	622226701	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「タカタ」
dopa_ago	622226801	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「タカタ」
dopa_ago	622228701	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「明治」
dopa_ago	622228801	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「明治」
dopa_ago	622229801	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「日医工」
dopa_ago	622229901	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「日医工」
dopa_ago	622231601	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「A A」
dopa_ago	622231701	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「A A」
dopa_ago	622233901	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「Y D」
dopa_ago	622234001	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「Y D」
dopa_ago	622235901	プラミベキソール塩酸塩錠 O D 錠 0. 1 2 5 mg 「トーウ」
dopa_ago	622236001	プラミベキソール塩酸塩錠 O D 錠 0. 5 mg 「トーウ」
dopa_ago	622238001	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「アメル」
dopa_ago	622238101	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「アメル」
dopa_ago	622239601	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「D S E P」
dopa_ago	622239701	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「D S E P」
dopa_ago	622245201	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「日新」
dopa_ago	622245301	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「日新」
dopa_ago	622247301	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「F F P」
dopa_ago	622247401	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「F F P」
dopa_ago	622249201	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「M E E K」
dopa_ago	622249301	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「M E E K」
dopa_ago	622253101	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「E E」
dopa_ago	622253201	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「E E」
dopa_ago	622253501	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「T C K」
dopa_ago	622253601	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「T C K」
dopa_ago	622256401	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「サワイ」
dopa_ago	622256501	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「サワイ」
dopa_ago	622257401	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「J G」
dopa_ago	622257501	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「J G」
dopa_ago	622263001	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「S N」
dopa_ago	622263101	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「K O」
dopa_ago	622263201	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「S N」
dopa_ago	622263301	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「K O」
dopa_ago	622272601	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 1 2 5 mg 「ファイザー」
dopa_ago	622272701	プラミベキソール塩酸塩錠 0. 5 mg 「ファイザー」
dopa_ago	622511201	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「D S E P」
dopa_ago	622511301	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「D S E P」
dopa_ago	622513801	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「トーウ」
dopa_ago	622513901	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「トーウ」
dopa_ago	622520201	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「サワイ」
dopa_ago	622520301	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「サワイ」
dopa_ago	622524801	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「J G」
dopa_ago	622524901	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「J G」
dopa_ago	622528201	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「オーハラ」
dopa_ago	622528301	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「オーハラ」
dopa_ago	622530001	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 0. 3 7 5 mg M I 「アメル」
dopa_ago	622530101	プラミベキソール塩酸塩錠 L A 錠 1. 5 mg M I 「アメル」
dopa_ago	620000435	ピ・シプロール錠 0. 1 2 5 mg
dopa_ago	620000436	ピ・シプロール錠 0. 5 mg
dopa_ago	622163501	ニュープロパッチ 2. 2 5 mg
dopa_ago	622163601	ニュープロパッチ 4. 5 mg
dopa_ago	622163701	ニュープロパッチ 9 mg
dopa_ago	622163801	ニュープロパッチ 1 3. 5 mg
dopa_ago	622478301	ニュープロパッチ 1 8 mg
dopa_ago	620004415	レキップ錠 0. 2 5 mg
dopa_ago	620004416	レキップ錠 1 mg
dopa_ago	620004417	レキップ錠 2 mg
dopa_ago	622183601	レキップ C R 錠 2 mg
dopa_ago	622183701	レキップ C R 錠 8 mg
dopa_ago	622492301	ロビニール錠 2 mg 「J G」
dopa_ago	622492401	ロビニール錠 0. 2 5 mg 「J G」
dopa_ago	622492501	ロビニール錠 1 mg 「J G」
dopa_ago	622500001	ロビニール O D 錠 0. 2 5 mg 「アメル」
dopa_ago	622500101	ロビニール O D 錠 1 mg 「アメル」
dopa_ago	622500201	ロビニール O D 錠 2 mg 「アメル」
dopa_ago	622582201	ロビニール徐放錠 2 mg 「トーウ」
dopa_ago	622582301	ロビニール徐放錠 8 mg 「トーウ」
dopa_ago	622583401	ロビニール徐放錠 2 mg 「共創未来」
dopa_ago	622583501	ロビニール徐放錠 8 mg 「共創未来」
dopa_ago	622656201	ロビニール徐放錠 2 mg 「サワイ」
dopa_ago	622656301	ロビニール徐放錠 8 mg 「サワイ」
dopa_ago	610409337	ドミン錠 0. 4 0. 4 mg

flacture(SIN)

変数	診療行為コード	診療行為名称	Kコード
flacture	150016510	骨折非観血の整復術（肩甲骨）	K044
flacture	150016610	骨折非観血の整復術（上腕）	K044
flacture	150016710	骨折非観血の整復術（大腿）	K044
flacture	150016810	骨折非観血の整復術（前腕）	K044
flacture	150016910	骨折非観血の整復術（下腿）	K044
flacture	150017010	骨折非観血の整復術（鎖骨）	K044
flacture	150017110	骨折非観血の整復術（膝蓋骨）	K044
flacture	150017210	骨折非観血の整復術（手）	K044
flacture	150017310	骨折非観血の整復術（足その他）	K044
flacture	150018110	骨折経皮的鋼線刺入固定術（肩甲骨）	K045
flacture	150018210	骨折経皮的鋼線刺入固定術（上腕）	K045
flacture	150018310	骨折経皮的鋼線刺入固定術（大腿）	K045
flacture	150018410	骨折経皮的鋼線刺入固定術（前腕）	K045
flacture	150018510	骨折経皮的鋼線刺入固定術（下腿）	K045
flacture	150018610	骨折経皮的鋼線刺入固定術（鎖骨）	K045
flacture	150018710	骨折経皮的鋼線刺入固定術（膝蓋骨）	K045
flacture	150018810	骨折経皮的鋼線刺入固定術（手）	K045
flacture	150018910	骨折経皮的鋼線刺入固定術（足）	K045
flacture	150261010	骨折経皮的鋼線刺入固定術（指）	K045
flacture	150289110	骨折経皮的鋼線刺入固定術（その他）	K045
flacture	150019010	骨折観血の手術（肩甲骨）	K046
flacture	150019110	骨折観血の手術（上腕）	K046
flacture	150019210	骨折観血の手術（大腿）	K046
flacture	150019310	骨折観血の手術（前腕）	K046
flacture	150019410	骨折観血の手術（下腿）	K046
flacture	150019510	骨折観血の手術（鎖骨）	K046
flacture	150019610	骨折観血の手術（膝蓋骨）	K046
flacture	150019710	骨折観血の手術（手（舟状骨を除く））	K046
flacture	150019810	骨折観血の手術（足）	K046
flacture	150261110	骨折観血の手術（指）	K046
flacture	150289210	骨折観血の手術（その他）	K046
flacture	150294810	骨折観血の手術（手舟状骨）	K046

Pneumonia

変数	傷病名コード	傷病名	ICD-10th
Pneumonia	4860018	急性肺炎	J189
Pneumonia	8832646	胸膜肺炎	J188
Pneumonia	8834801	小児肺炎	J189
Pneumonia	4819003	大葉性肺炎	J181
Pneumonia	8837800	沈下性肺炎	J182
Pneumonia	8838435	乳児肺炎	J189
Pneumonia	4860030	肺炎	J189
Pneumonia	4830007	非定型肺炎	J189
Pneumonia	8839549	びまん性肺炎	J180
Pneumonia	8841647	閉塞性肺炎	J188
Pneumonia	4860045	無熱性肺炎	J189
Pneumonia	4860043	老人性肺炎	J189
Pneumonia	8830065	B群連鎖球菌肺炎	J153
Pneumonia	8847070	M R C N S肺炎	J152
Pneumonia	8830122	M R S A肺炎	J152
Pneumonia	8830932	エンテロバクター肺炎	J156
Pneumonia	8847183	コリネバクテリウム肺炎	J158
Pneumonia	4829003	細菌性肺炎	J159
Pneumonia	8846406	ステプトトロフォモナス・マルトフィリア肺炎	J156
Pneumonia	8836058	セラチア菌肺炎	J156
Pneumonia	8837370	大腸菌肺炎	J155
Pneumonia	8838795	肺炎桿菌肺炎	J150
Pneumonia	4824001	ぶどう球菌性肺炎	J152
Pneumonia	8839998	変形菌肺炎	J156
Pneumonia	8842169	マイコプラズマ肺炎	J157
Pneumonia	8846063	モラキセラ・カタラリス肺炎	J156
Pneumonia	8841070	緑膿菌肺炎	J151
Pneumonia	8841197	連鎖球菌肺炎	J154
Pneumonia	8830602	胃分泌物嚥下性肺炎	J690
Pneumonia	5070003	誤嚥性肺炎	J690
Pneumonia	8834867	食物嚥下性肺炎	J690
Pneumonia	8838214	吐物嚥下性肺炎	J690
Pneumonia	8838416	乳嚥下性肺炎	J690
Pneumonia	8841219	老人性嚥下性肺炎	J690

zaitaku

区数	診療行為コード	診療行為名称
zaitaku	114016070	在宅移行早期加算 (在医総管・施設総管)
zaitaku	114030710	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・1人)
zaitaku	114030810	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114030810	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・2~9人)
zaitaku	114030910	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114030910	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114031010	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月2回以上・1人)
zaitaku	114031110	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114031110	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月2回以上・2~9人)
zaitaku	114031210	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114031210	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月2回以上・10人~)
zaitaku	114031310	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月1回・1人)
zaitaku	114031410	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月1回・2~9人)
zaitakuR1	114031410	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月1回・2~9人)
zaitaku	114031510	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月1回・10人~)
zaitakuR1	114031510	在医総管 (機能強化在支診等、病床有、月1回・10人~)
zaitaku	114031610	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・1人)
zaitaku	114031710	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114031710	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・2~9人)
zaitaku	114031810	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114031810	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114031910	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月2回以上・1人)
zaitaku	114032010	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114032010	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月2回以上・2~9人)
zaitaku	114032110	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114032110	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月2回以上・10人~)
zaitaku	114032210	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月1回・1人)
zaitaku	114032310	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月1回・2~9人)
zaitakuR1	114032310	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月1回・2~9人)
zaitaku	114032410	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月1回・10人~)
zaitakuR1	114032410	在医総管 (機能強化在支診等、病床無、月1回・10人~)
zaitaku	114032510	在医総管 (在支診等、難病等月2回以上・1人)
zaitaku	114032610	在医総管 (在支診等、難病等月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114032610	在医総管 (在支診等、難病等月2回以上・2~9人)
zaitaku	114032710	在医総管 (在支診等、難病等月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114032710	在医総管 (在支診等、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114032810	在医総管 (在支診等、月2回以上・1人)
zaitaku	114032910	在医総管 (在支診等、月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114032910	在医総管 (在支診等、月2回以上・2~9人)
zaitaku	114033010	在医総管 (在支診等、月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114033010	在医総管 (在支診等、月2回以上・10人~)
zaitaku	114033110	在医総管 (在支診等、月1回・1人)
zaitaku	114033210	在医総管 (在支診等、月1回・2~9人)
zaitakuR1	114033210	在医総管 (在支診等、月1回・2~9人)
zaitaku	114033310	在医総管 (在支診等、月1回・10人~)
zaitakuR1	114033310	在医総管 (在支診等、月1回・10人~)
zaitaku	114033410	在医総管 (在支診等以外、難病等月2回以上・1人)
zaitaku	114033510	在医総管 (在支診等以外、難病等月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114033510	在医総管 (在支診等以外、難病等月2回以上・2~9人)
zaitaku	114033610	在医総管 (在支診等以外、難病等月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114033610	在医総管 (在支診等以外、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114033710	在医総管 (在支診等以外、月2回以上・1人)
zaitaku	114033810	在医総管 (在支診等以外、月2回以上・2~9人)
zaitakuR1	114033810	在医総管 (在支診等以外、月2回以上・2~9人)
zaitaku	114033910	在医総管 (在支診等以外、月2回以上・10人~)
zaitakuR1	114033910	在医総管 (在支診等以外、月2回以上・10人~)
zaitaku	114034010	在医総管 (在支診等以外、月1回・1人)
zaitaku	114034110	在医総管 (在支診等以外、月1回・2~9人)
zaitakuR1	114034110	在医総管 (在支診等以外、月1回・2~9人)
zaitaku	114034210	在医総管 (在支診等以外、月1回・10人~)
zaitakuR1	114034210	在医総管 (在支診等以外、月1回・10人~)
zaitaku	114034370	処方箋無文付加算 (在医総管・施設総管)
zaitaku	114034470	巡回訪問加算 (在医総管・施設総管)
zaitakuR1	114034570	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (在医総管) (1人)
zaitakuR1	114034670	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (在医総管) (2人~9人)
zaitakuR1	114034770	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (在医総管) (10人~)
zaitakuR1	114034870	在宅療養実績加算1 (在医総管) (1人)
zaitakuR1	114034970	在宅療養実績加算1 (在医総管) (2人~9人)
zaitakuR1	114035070	在宅療養実績加算1 (在医総管) (10人~)
zaitakuR1	114035170	在宅療養実績加算2 (在医総管) (1人)
zaitakuR1	114035270	在宅療養実績加算2 (在医総管) (2人~9人)
zaitakuR1	114035370	在宅療養実績加算2 (在医総管) (10人~)
zaitaku	114035510	機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・1人
zaitaku	114035610	機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・2~9人
zaitaku	114035710	機能強化在支診等、病床有、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114035810	機能強化在支診等、病床有、月2回以上・1人
zaitaku	114035910	機能強化在支診等、病床有、月2回以上・2~9人
zaitaku	114036010	機能強化在支診等、病床有、月2回以上・10人~)
zaitaku	114036110	機能強化在支診等、病床有、月1回・1人
zaitaku	114036210	機能強化在支診等、病床有、月1回・2~9人
zaitaku	114036310	機能強化在支診等、病床有、月1回・10人~)
zaitaku	114036410	機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・1人
zaitaku	114036510	機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・2~9人
zaitaku	114036610	機能強化在支診等、病床無、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114036710	機能強化在支診等、病床無、月2回以上・1人
zaitaku	114036810	機能強化在支診等、病床無、月2回以上・2~9人
zaitaku	114036910	機能強化在支診等、病床無、月2回以上・10人~)
zaitaku	114037010	機能強化在支診等、病床無、月1回・1人
zaitaku	114037110	機能強化在支診等、病床無、月1回・2~9人
zaitaku	114037210	機能強化在支診等、病床無、月1回・10人~)
zaitaku	114037310	在支診等、難病等月2回以上・1人
zaitaku	114037410	在支診等、難病等月2回以上・2~9人
zaitaku	114037510	在支診等、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114037610	在支診等、月2回以上・1人
zaitaku	114037710	在支診等、月2回以上・2~9人
zaitaku	114037810	在支診等、月2回以上・10人~)
zaitaku	114037910	在支診等、月1回・1人
zaitaku	114038010	在支診等、月1回・2~9人
zaitaku	114038110	在支診等、月1回・10人~)
zaitaku	114038210	在支診等以外、難病等月2回以上・1人
zaitaku	114038310	在支診等以外、難病等月2回以上・2~9人
zaitaku	114038410	在支診等以外、難病等月2回以上・10人~)
zaitaku	114038510	在支診等以外、月2回以上・1人
zaitaku	114038610	在支診等以外、月2回以上・2~9人
zaitaku	114038710	在支診等以外、月2回以上・10人~)
zaitaku	114038810	在支診等以外、月1回・1人
zaitaku	114038910	在支診等以外、月1回・2~9人
zaitaku	114039010	在支診等以外、月1回・10人~)
zaitaku	114039370	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (施設総管) (1人)
zaitaku	114039470	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (施設総管) (2人~9人)
zaitaku	114039570	在宅緩和ケア充実診療所、病院加算 (施設総管) (10人~)
zaitaku	114039670	在宅療養実績加算1 (施設総管) (1人)
zaitaku	114039770	在宅療養実績加算1 (施設総管) (2人~9人)
zaitaku	114039870	在宅療養実績加算1 (施設総管) (10人~)
zaitaku	114039970	在宅療養実績加算2 (施設総管) (1人)
zaitaku	114040070	在宅療養実績加算2 (施設総管) (2人~9人)
zaitaku	114040170	在宅療養実績加算2 (施設総管) (10人~)
zaitaku	114041870	在医総管・施設総管 (在支診等以外) (10分0分80) 減算
zaitaku	114043770	継続診療加算 (在医総管・施設総管 (在支診等以外))
zaitaku	114043870	包括的支援加算 (在医総管・施設総管)
zaitakuR1	114043970	オンライン在宅管理料 (在医総管 (月1回訪問診療))

lepodopa_val

レセプトコード	医薬品名称	レボドパ(換算値) (LED)
620123901	ネオドパ(ストン)配合錠 L 1 0 0	1
620124501	ネオドパ(ストン)配合錠 L 2 5 0	1
620124001	メシドン 配合錠 1 0 0	1
620124601	メシドン 配合錠 2 5 0	1
620124101	カルコバ(配合錠) L 1 0 0	1
622050801	カルコバ(配合錠) L 2 5 0	1
620124201	ドバコール配合錠 L 1 0 0	1
621865201	ドバコール配合錠 L 5 0	1
622080201	ドバコール配合錠 L 2 5 0	1
620124301	パーネストン配合錠 L 1 0 0	1
622051301	パーネストン配合錠 L 2 5 0	1
620124401	レブリントン配合錠 L 1 0 0	1
622067101	レブリントン配合錠 L 2 5 0	1
620123601	イーシー・ドバール配合錠	1
620123701	ネオドバール配合錠	1
620123801	マドバール配合錠	1
622375701	スタシホ配合錠 L 5 0	0.33
622375801	スタシホ配合錠 L 1 0 0	0.33
611240079	シメトレル錠 1 0 0mg	1
611240080	シメトレル錠 5 0 mg	1
620049505	シメトレル錠 1 0 %	1
620086286	アマンタジン錠 1 0 %	1
620117107	アマンタジン錠 5 0 mg	1
620117410	アマンタジン錠 1 0 0 mg	1
610461044	アマンタジン錠 1 0 %細粒	1
610461047	アマンタジン錠 1 0 0 mg錠	1
620080286	アマンタジン錠 5 0 mg 「Z E」	1
620116802	アマンタジン錠 1 0 % 「サワイ」	1
620117103	アマンタジン錠 5 0 mg 「サワイ」	1
620117110	アマンタジン錠 5 0 mg 「日医工」	1
620117114	アマンタジン錠 5 0 mg 「杏林」	1
620117404	アマンタジン錠 1 0 0 mg 「サワイ」	1
620117412	アマンタジン錠 1 0 0 mg 「杏林」	1
620117413	アマンタジン錠 1 0 0 mg 「日医工」	1
620117414	アマンタジン錠 1 0 0 mg 「Z E」	1
620008688	パロチリン錠 2. 5 mg	10
620008579	アプゾール錠 2. 5 mg	10
620121101	パドバリン錠 2. 5 mg	10
620006743	プロモクリプテンメシル錠 2. 5 mg錠	10
620121401	プロモクリプテン錠 2. 5 mg 「F」	10
620121701	プロモクリプテン錠 2. 5 mg 「トロー」	10
620121802	プロモクリプテン錠 2. 5 mg 「フソ」	10
620121904	プロモクリプテン錠 2. 5 mg 「T C K」	10
620122001	プロモクリプテンメシル錠 2. 5 mg 「アメル」	10
610406392	ペルマックス錠 5 0 μg	100
610406393	ペルマックス錠 5 0 μg	100
620002124	ベセラル錠 5 0 μg	100
620002125	ベセラル錠 2 5 0 μg	100
620002857	メシル酸ペルゴリド錠 5 0 μg 「アメル」	100
620002858	メシル酸ペルゴリド錠 2 5 0 μg 「アメル」	100
620004067	ペルゴリド錠 5 0 μg 「サワイ」	100
620040686	ペルゴリド錠 2 5 0 μg 「サワイ」	100
621642002	ペルゴリド錠 5 0 μg 「ファイザー」	100
621642103	ペルゴリド錠 2 5 0 μg 「ファイザー」	100
62226701	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「タカタ」	100
62226801	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「タカタ」	100
62228701	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「精進」	100
62228801	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「精進」	100
62229801	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「日医工」	100
62229901	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「日医工」	100
62231601	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「A A」	100
62231701	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「A A」	100
62233901	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「Y D」	100
62234001	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「Y D」	100
62235901	プラミベキソール錠 O D錠 0. 1 2 5 mg 「トロー」	100
62236001	プラミベキソール錠 O D錠 0. 5 mg 「トロー」	100
62238001	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「アメル」	100
62238101	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「アメル」	100
62239601	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「D S E P」	100
62239701	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「D S E P」	100
62245201	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「日新」	100
62245301	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「日新」	100
62247301	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「F F P」	100
62247401	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「F F P」	100
62249201	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「F E E K」	100
62249301	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「F E E K」	100
62253101	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「E E」	100
62253201	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「E E」	100
62253501	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「T C K」	100
62253601	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「T C K」	100
62256401	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「サワイ」	100
62256501	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「サワイ」	100
62257401	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「J G」	100
62257501	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「J G」	100
62263001	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「S N」	100
62263101	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「K O」	100
62263201	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「S N」	100
62263301	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「K O」	100
62272601	プラミベキソール錠 0. 1 2 5 mg 「ファイザー」	100
62272701	プラミベキソール錠 0. 5 mg 「ファイザー」	100
622511201	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「D S E P」	100
622511301	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「D S E P」	100
622513801	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「トロー」	100
622513901	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「トロー」	100
622520201	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「サワイ」	100
622520301	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「サワイ」	100
62254801	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「J G」	100
62254901	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「J G」	100
62258201	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「オーバ」	100
62258301	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「オーバ」	100
622530001	プラミベキソール錠 L A錠 0. 3 7 5 mg M 1 「アメル」	100
622530101	プラミベキソール錠 L A錠 1. 5 mg M 1 「アメル」	100
620000435	ビ・シフール錠 0. 1 2 5 mg	100
620000436	ビ・シフール錠 0. 5 mg	100
610432022	カバール錠 0. 2 5 mg	66.7
610432024	カバール錠 1. 0 mg	66.7
620005369	カベルゴリン錠 0. 2 5 mg 「F」	66.7
620005370	カベルゴリン錠 0. 2 5 mg 「サワイ」	66.7
620005371	カベルゴリン錠 0. 2 5 mg 「タナベ」	66.7
620005372	カベルゴリン錠 0. 2 5 mg 「トロー」	66.7
620005376	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「F」	66.7
620005377	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「サワイ」	66.7
620005378	カベルゴリン錠 1. 0 mg 「タナベ」	66.7
62149301	アホカン液下注 3 0 mg 3 mL	10
622163501	ニューロバッチ 2. 5 mg	13.3
622163601	ニューロバッチ 4. 5 mg	13.3
622163701	ニューロバッチ 9 mg	13.3
622163801	ニューロバッチ 1 3. 5 mg	13.3
622478301	ニューロバッチ 1 8 mg	13.3
620005364	エフビーOD錠 2. 5 2. 5 mg	10
620003975	セレギリン錠 2. 5 mg 「アメル」	10
620005511	セレギリン錠 2. 5 mg 「タイヨー」	10
620004853	エンタカボン錠 1 0 0 mg	0.33
622478401	エンタカボン錠 1 0 0 mg 「トロー」	0.33
622490101	エンタカボン錠 1 0 0 mg 「J G」	0.33
622498501	エンタカボン錠 1 0 0 mg 「アメル」	0.33
622503001	エンタカボン錠 1 0 0 mg 「K N」	0.33
620004415	レキップ錠 0. 2 5 mg	20
620004416	レキップ錠 1 mg	20
620004417	レキップ錠 2 mg	20
622183601	レキップC錠 2 mg	20
622183701	レキップC錠 8 mg	20
622492301	ロビニール錠 2 mg 「J G」	20
622492401	ロビニール錠 0. 2 5 mg 「J G」	20
622492501	ロビニール錠 1 mg 「J G」	20
622500001	ロビニールOD錠 0. 2 5 mg 「アメル」	20
622500101	ロビニールOD錠 1 mg 「アメル」	20
622500201	ロビニールOD錠 2 mg 「アメル」	20
622582201	ロビニール錠 2 mg 「トロー」	20
622582301	ロビニール錠 8 mg 「トロー」	20
622583401	ロビニール錠 2 mg 「精進」	20
622583501	ロビニール錠 8 mg 「精進」	20
622656201	ロビニール錠 2 mg 「サワイ」	20
622656301	ロビニール錠 8 mg 「サワイ」	20

分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論
およびツール等の開発に関する研究
分担研究報告書

介護者の QOL を費用対効果評価に含める際の諸問題に関する研究

研究分担者 能登 真一

新潟医療福祉大学 リハビリテーション学部
医療経済・QOL 研究センター

I. 介護者の QOL と費用対効果評価に関する諸問題

1) 背景

近年、小児の難病や認知症など家族などインフォーマル・ケアラーの介護負担を考慮すべき疾患の治療薬が登場し、その費用対効果評価の際に介護者への影響を含めることの議論が盛んになっている。

日本のガイドラインでも、「8 効果指標の選択」の中で、「8.7 公的医療・介護の立場」からの分析の場合、実際のデータがあれば家族等の介護者や看護者に与える QOL 値への影響について考慮に入れてもよい。」と明記されている。

一方で、海外の HTA 機関や学会などにおいても、共通の認識やガイドラインなどの策定には至っておらず、対応も分かれている。今後、国内でも介護者に影響を与える新薬が承認される可能性も高く、現時点の内外の状況を整理しておく必要がある。

2) 目的

各国 HTA 機関の介護者の QOL の扱いを確認し、それらの動向をまとめること。また、Carer QALY Trap について、その問題点と対応策についても紹介する。

3) 方法

各国の HTA 機関のガイドラインなどをレビューするとともに、関連する先行論文を調べる。

4) 結果

(1) 諸外国の HTA 機関のガイドライン

① NICE (イギリス) ¹⁾

介護者の HRQL は、関連性があると判断される場合には、ベースケース分析に含めるべきである」と明記しており、評価では「患者に加え、介護者の健康への影響も考慮すべき」としている。ただし、実際に介護者の HRQL を含めて評価されたのは、414 件の技術評価のうち 12 件のみであり、実運用ではまだ限定的である。介護者の disutility として評価した 5 つの事例を以下に示す。

	治療薬と対象疾患	NICE の対応
HST19	エロスルファーゼ アルファ (ムコ多糖症IVA型)	ベースケースで介護者の disutility を含めた
TA585	オクレリズマブ (多発性硬化症)	ベースケースで介護者の disutility を含めた
TA588	ヌシネルセン (脊髄性筋萎縮症)	介護者の disutility を含めたが、患者の延命により一部で負の影響が発生
HST10	パチシラン (アミロイドーシス)	ベースケースに含めたが、データの妥当性には議論あり
HST11	ボレチゲン ネパールボベク (網膜疾患)	ベースケースで介護者の disutility を含めた

② TLV (スウェーデン) ²⁾

家族やケアラーの QOL を含めるべきかどうか、あるいはどのように含めるかは「さらなる議論が必要な論点」として言及されている。一方で、新たな価値観として、近親者の介護者の生活の質はデータで把握できる可能性が最も高いと明記した。TLV は介護者の QOL を考慮すべきかどうかについて、明確な結論を導き出しているわけではないが、1 つの結論として、そこには価値観が重要であり、倫理的に考慮することが妥当である場合、それが個別化医療、ATMP (advanced therapy medicinal products)、またはその他の技術の種類に関係するかどうかに関わらず、考慮すべきであると述べている。さらに、この問題点は諸外国の行政機関では考慮されている価値観であるため、この価値を捉えるデータ取得の好機であり、諸外国の関係当局との連携が重要となると述べている。

③ ZiN (オランダ) ³⁾

ZiN は介護者の HRQL を、明確に「参考分析 (reference case)」に含めるべきであるとしている。ガイドラインでは、「誰が費用を負担し、誰が利益を得るかにかかわらず、すべての社会的コストと便益を考慮する必要がある」と明記されている。

このように、ZiN は明確に社会的視点 (societal perspective) を支持しており、介護者の QOL も対象に含めるという立場をとっている。

治療薬と対象疾患	ZiN の対応
ヌシネルセン (脊髄性筋萎縮症)	介護者の utility を使ったシナリオ分析を実施
パチシラン (アミロイドーシス)	シナリオ分析で含めた (使用データの出典は不明)
ボレチゲン ネパールボベク (網膜疾患)	米国の研究を元に介護者の QOL を含めた分析を実施 (ただし、適用可能性の議論はなし)

④ IQWiG (ドイツ) ⁴⁾

IQWiG は介護者の HRQL を評価に含めるかどうかは、評価依頼時の「依頼者の視点 (perspective in the commission)」に依存するとしている。明確に「参考分析に含める／含めない」とは規定していないが、以下のような記述がある。「介入は、間接的に影響を受ける人々 (例：家族や介護者) に対しても影響を及ぼす可能性がある。必要に応じて、これらの影響も報告の中で考慮されうる」と。つまり、含めることは可能だが義務ではなく、依頼内容により判断されるという柔軟な立場を取っている。

⑤ HAS (フランス) ⁵⁾

HAS は、介護者の HRQL を評価に含めることを明確に支持しており、「参考分析 (reference case)」に含めるべきであるとしている。ガイドラインの記述には以下のように明記されている。

「健康アウトカムの評価は、対象となる集団 (すなわち、患者、医療サービスの利用者、介護者) にとって関連する健康効果を識別する。」つまり、介護者を「影響を受ける当事者」として正式に認識しており、患者だけでなく介護者も含めて健康アウトカムを評価すべきという姿勢である。特に「集合的視点 (collective perspective)」という言葉を用いて、医療制度全体での影響や関係者の包括的な QOL の変化を捉えるアプローチを重視している点に特徴がある。しかしながら、実際に介護者の QOL を含めた分析は行われていない。

⑥ CADTH (カナダ) ⁶⁾

CADTH は「介護者の HRQL を参考分析 (非基準分析) に含めるべき」としており、ガイドラインでは、以下のように明記されている。

「評価対象の介入のターゲット集団が患者だけでなく介護者も含む場合、介護者の

影響を考慮すべきである。そうでない場合、介護者の影響は感度分析や補足的な分析としてのみ扱われる。」

治療薬と対象疾患	CADTH の対応
エロスルファーゼ アルファ (ムコ多糖症IVA型)	シナリオ分析として介護者の disutility を考慮した

⑦ PBAC (オーストラリア) ⁷⁾

PBAC は「介護者の HRQL は、ベースケース (reference case) には含めるべきではない」と明記している。ガイドラインでは以下のように述べられている。

「PBAC の基本的視点は、医療制度視点であり、アウトカムは主に患者に関連するものとする。患者以外 (例：介護者や家族など) の健康アウトカムは補足的な分析で取り扱う。」

よって、原則として介護者の QOL はメインの経済評価には含めないという明確な立場である。もし患者以外の人々 (コミュニティ、家族、介護者など) に有意な影響がある場合は、補足的な分析 (supplementary analysis) での考慮は許容されるとしている。

⑧ SMC (スコットランド) ⁸⁾

SMC のガイドラインは一見、介護者の HRQL の含有を認めているように見えるが、実際には非常に限定的である。ガイドラインには、「アウトカムの評価は、患者や関連する他者 (主に介護者) に対するすべての直接的な健康影響を含めるべきである。」としつつ、別の箇所では「介護者やその他のグループに関する QALY (質調整生存年) のデータがある場合でも、SMC の評価視点の外にあるため、分離した分析として提示すべきである。」と。つまり、介護者の QOL は SMC の正式なベースケース (基本的経済評価) には含まれないが、補足的に示すことは許容されている、という姿勢である。

治療薬と対象疾患	SMC の対応
ボレチゲン ネパールボベク (網膜疾患)	ベースケースに含めた

以上の通り、各国の介護者の QOL の扱いについては、考慮すべきであるという明記があるものの、一貫性がなく、対応策についても一致点は見つけられなかった。

個別の品目への対応を以下の先行研究を抜粋して図 1 に示すが、介護者の QOL を含めることで QALYs を増加させている分析がある一方で、NICE の ERG の指摘では逆にマイナ

スとなっている。これはまさに、後述する Carer QALY Trap による影響であり、患者の生命予後が延長されることによって、介護者の disutility の期間も延長されるため、社会の視点で見た際には獲得する QALYs がマイナスになることを物語っている。

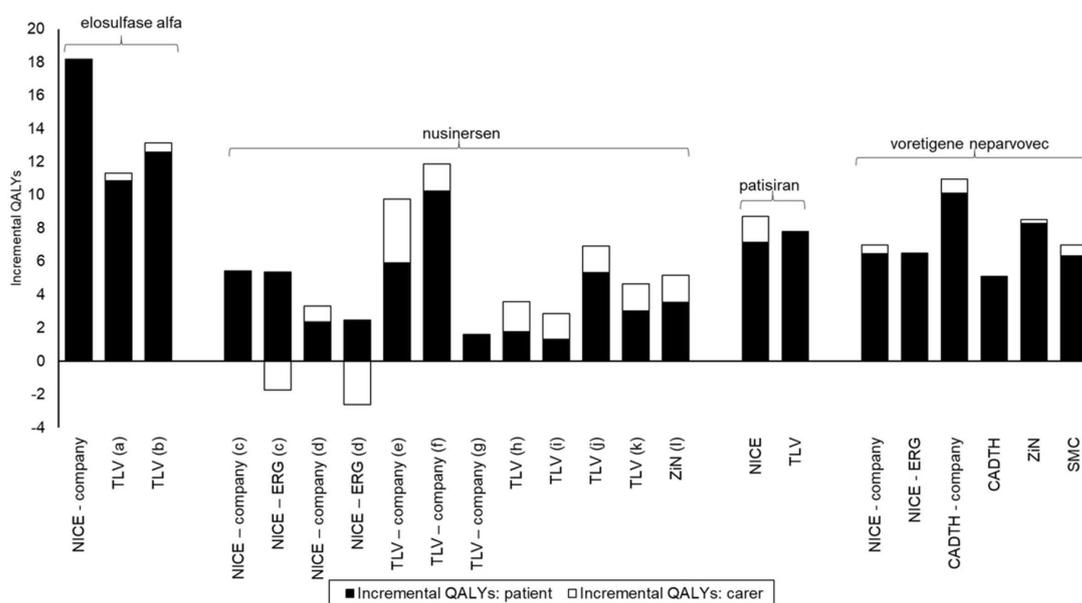


Fig. 1 Impact of including carers' HRQL on incremental QALYs. **a** SMA type II, **g** SMA type III; **h** SMA type Ia; **i** SMA type Ib; **j** SMA type IIa; **k** SMA type IIb; **l** SMA type II/I
c early onset; **d** late onset; **e** spinal muscular atrophy (SMA) type I; **f**

図 1. 介護者の QOL を QALY に加味した際の影響⁹⁾

この介護者の QOL を費用対効果評価に含めるかどうかをまとめた Pennington らは、以下のようなポイントを提言として発表している。

- ① 介護者の QOL を含める理由を明確にすること
- ② 可能であれば、実際に影響を受ける対象の介護者データを使用すること
- ③ 他国や他の疾患領域からデータを転用する場合は、正当性と限界を明示すること
- ④ 横断的データを使用する場合は、比較対象の妥当性を検証すること
- ⑤ モデルの仮定と影響を明確にすること
- ⑥ 患者と介護者の結果を分けて提示し、感度分析で含有・非含有の両方を評価すること

以上の通り、諸外国の HTA 機関における介護者の QOL を費用対効果評価にどのように含めるのかについて、明確な決定がなされていない。また、ガイドラインに明記されていても、実際の事例はまだ少なく、対応策を決めかねている状況であると理解された。

(2) Carer QALY Trap の問題点と対策

費用対効果評価において、新薬が患者の延命に寄与する場合、家族などインフォーマルな介護者が介護する期間も延長することとなる。この場合、家族などが無償で行う介護はインフォーマルケアと呼ばれ、自己負担費用の増加、時間の損失、生産性の低下、そして介護者自身の QOL の低下をもたらす。これら患者の治療が介護者にもたらす種々の影響をインフォーマル・ケアラーの **spillover effect** と呼ぶが、この介護の期間の介護者の QOL を費用対効果評価に含めることによって、新薬によって新たに獲得する QALY を増減させることにもなる¹⁰⁾。

さらに、患者の QOL の改善よりも介護者の介護負担が大きい場合、つまり患者の **utility** よりも介護者の **disutility** の方が大きい場合に、獲得 QALY を減少させることになる。つまり、新薬の登場によって、患者の寿命は延びるが、そのことは社会的にみると、費用対効果評価に優れないということになってしまう。このような現象は **Carer QALY Trap** と呼ばれ、様々な議論を巻き起こしている¹¹⁾。

まず、費用対効果評価を技術的な視点から見れば、**disutility** を含めることは、これまで多くの薬剤の分析で用いられてきたためそれほど難しいことではない。これが介護者の **disutility** であったとしても、それを単純に QALY の積算に反映させることが、仮にそのことによって結果的に獲得 QALY が減少したとしても正当な手法と言える。

一方で、患者の延命をもたらす新薬が介護者の QOL を含めることで費用対効果評価を悪化させる、あるいはその結果が償還の可否に影響を与えることは、そのような疾患を抱える患者や家族にとっては受け入れがたいということも納得できる。

このような **Carer QALY Trap** と呼ばれる難問を解決しようと、いくつかの提案がなされてきている。その一つは、**bereavement** と呼ばれる、近親者の死によってもたらされる悲哀を費用対効果評価に加味する手法である。図に示すように、患者が早期に死亡することによってもたらされる悲哀が、新薬の投与によって先延ばしされ、少ない悲哀で済むとしたなら、**Carer QALY Trap** を回避できるという理論である¹²⁾。

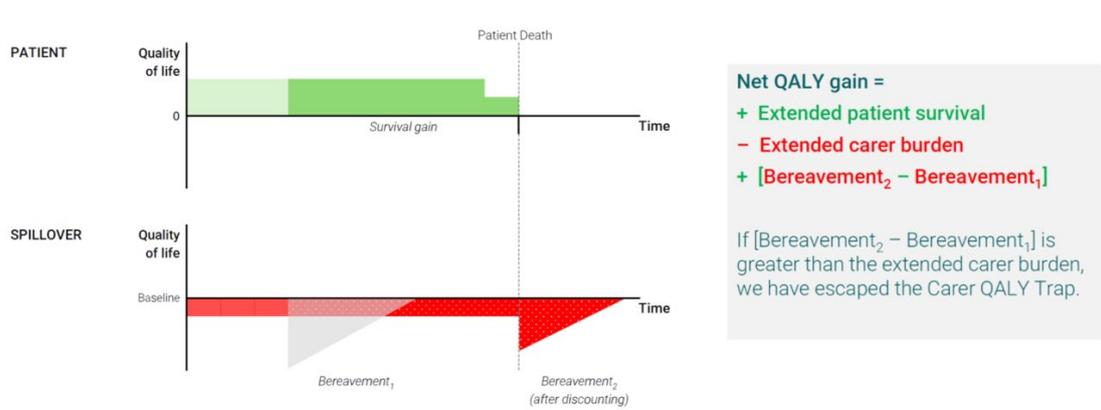


図 2. Bereavement を含めた場合の Carer QALY Trap の回避方法¹²⁾

また、Carer QALY Trap には、家族が介護者になるマイナス面だけを評価しているとして、利他的に介護するというプラスの面も加味するべきという意見もある。多くの家族にとって、患者が早く死亡するよりも、介護が必要であっても長生きしてほしいと望むと考えられるため、この利他主義に基づく理論を費用対効果評価にどのように反映させるかということを経、検討していかなければならない。

疾患と費用対効果評価のモデルにもよるが、対象疾患がいくつかの重症度によって推移していく場合、重症化を遅らせることによる disutility の回避分を遅延効果として費用対効果評価に加味すれば、獲得 QALY を減少させることはないため、Carer QALY Trap の回避につながるかもしれないと考えている。

5) 参考文献

- 1) National Institute for Health and Care Excellence. NICE health technology evaluations: the manual 2022.
- 2) Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Health Economics. 2020
- 3) Zorginstituut Nederlands. Guidelines for economic evaluations in Healthcare. 2016
- 4) Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. General Methods (Version 5.0). 2017
- 5) Haute Autorité de Santé. Choices in Methods for Economic Evaluation. 2020
- 6) Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Canada (4th Edition). 2017
- 7) Pharmaceutical Benefits Advisory Committee. Guidelines for preparing a submission to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee version 5.0. 2016
- 8) Scottish Medicines Consortium. Guidance to submitting companies for completion of New Product Assessment Form. 2020
- 9) Pennington B, Eaton J, Hatzwell AJ, Taylor H. Carers' Health-Related Quality of Life in Global Health Technology Assessment: Guidance, Case Studies and Recommendations. Pharmacoeconomics. 2022 Sep;40(9):837-850.
- 10) Mott DJ, Schirmacher H, Al-Janabi H, Guest S, Pennington B, Scheuer N, Shah KK, Skedgel C. Modelling Spillover Effects on Informal Carers: The Carer QALY Trap. Pharmacoeconomics. 2023 Dec;41(12):1557-1561.
- 11) Tilford JM, Tarlan A. The carer QALY trap and altruism in economic evaluations. Pharmacoeconomics. 2023;41(12):1553-5.
- 12) Skedgel C, Lavelle T, Pennington B, Knies S. Should Health Technology Assessment Include the Bereavement Effect on Health-Related Quality of Life? What Difference Could It Make to Decisions About Life-Extending Treatments? ISPOR EU issue panel 106. 18 Nov. 2025.

II. QOL 値データベースのアップデート

1) 目的

平成 26 年（2014 年）度の厚生労働科研福田班において、国内で調査された QOL 値に関する論文のデータベースを構築した。これは国内の費用対効果評価制度、そして医療経済評価研究に欠かせないデータのひとつである QOL 値について、日本国内で調査された研究論文を集めたものである。

このデータベースを毎年アップデートし、関係する方面で広く役立ててもらおうということが本研究の目的である。

2) 方法

データベースは 1 年に 2 回の割合で、対象となる年の翌年当初にアップデートしている。対象は MEDLINE と医中誌であり、それぞれ国内で調査された QOL 値が掲載されている全論文をレビューした。

3) 結果

2024 年に新たに公表された論文は 46 本であり、2014 年からの累計は 573 本となった（図 3）。論文の内訳は英文が 32 本、和文は 14 本であった。また、疾患別では、例年同様、整形疾患領域の論文が最も多く、ついでがん領域の論文が続いた（図 4）。

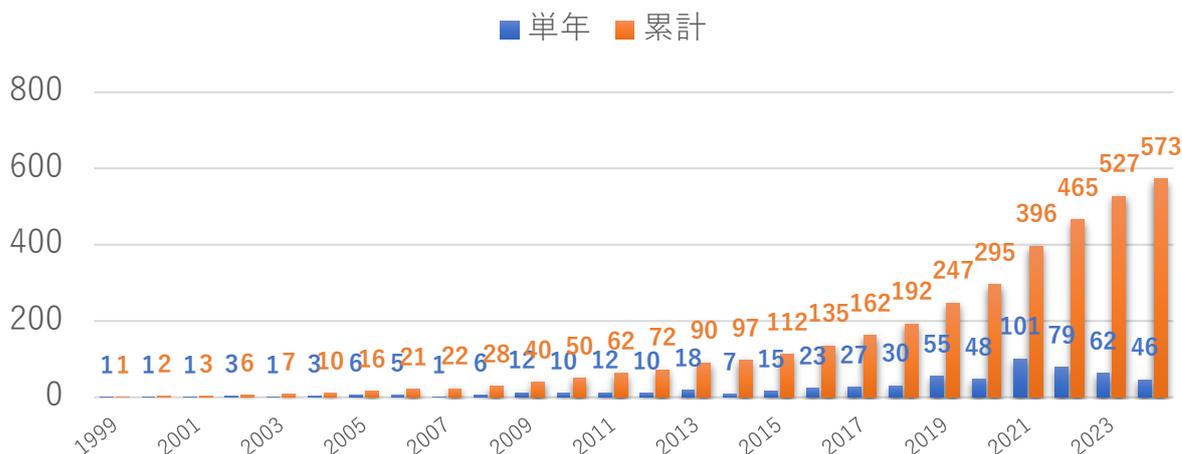


図 3. QOL データベースに掲載された論文の推移

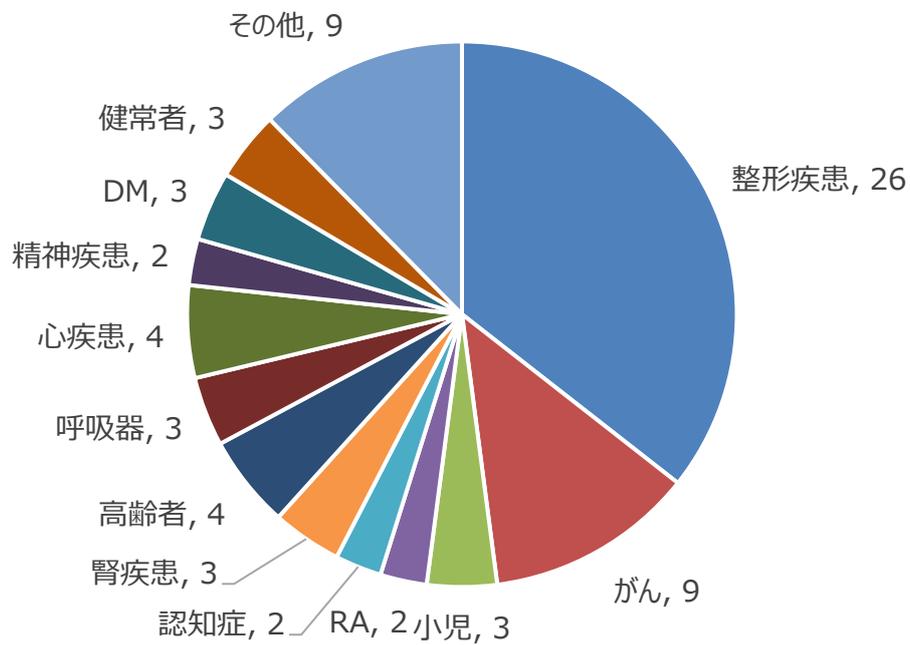


図 4. QOL 値が測定された疾患の内訳

4) 考察

国内で QOL 値を調査した論文の公表は昨年、一昨年と比べても減少した。疾患領域別では、整形外科疾患とがんの割合が多い点はこれまで同様であったが、その他の疾患の報告も増加傾向にあり、QOL 値の研究が疾患領域をまたいで広がってきていることが認識された。

5) Appendix

E374	2024	EQ-5D-5L	Rheumatoid Arthritis 関節リウマチ	42	Etanercept BS1	baseline	0.7	Medication treatment	longitudinal	Miyake N	Clin Rheumatol Rel Res	Effect of Etanercept BS1 on Functional Ability, Disease Activity and Health-Related Quality of Life in Elderly Japanese Patients with Rheumatoid Arthritis	36	102-113
						week26	0.83							
						week52	0.83							
E375	2023	EQ-5D-5L	Japanese workers 日本人労働者	3001	non-permanent workers	The first survey	0.895		longitudinal	Tran T	Niigata Journal of Health and Welfare	Change in sample characteristics owing to non-response in a nationwide web-based cohort study of mental health among non-permanent workers over a 1-year period during the	23 (1)	18-32

												COVID-19 pandemic in Japan		
				2351		The second survey	1.000							
				1568		The third survey	1.000							
				908	Employment workers	permanent workers	0.92							
				425		Non-permanent workers	0.907							
				75		Civil servant	0.914							
				113		Self-employed	0.917							
				47		Unemployed	0.808							
				908	Before matching	permanent workers	0.92							
				425		Non-permanent workers	0.91							
				235	After matching	permanent workers	0.9							
				235		Non-permanent workers	0.91							
				1568	The third survey	Respondents	0.893							
				783		Non- respondents	1							
E376	2023	EQ-5D-5L	diabetes mellitus 糖尿病患者	164	three major diabetic	with three major diabetic	0.87		longitudinal	Yamamoto M	Nagoya Journal of	Hand function and quality of	85(4)	659- 667

					complications	complications					Medical Science	life in patients with diabetes mellitus before and during the COVID-19 pandemic		
				253		without three major diabetic complications	0.9							
				121	diabetic hand	with diabetic hand	0.83							
				296		without diabetic hand	0.91							
				417	COVID-19 pandemic	Pre-COVID-19 pandemic	0.89							
						During COVID-19 pandemic	0.9							
E377	2023	EQ-5D	L4/5 Lumbar Disc Herniation L4/5 腰椎椎間板ヘルニア患者	19	the interlaminar endoscopic lumbar discectomy (IELD)	preoperative	0.53	Surgery	A Cross-Sectional	Takebayashi K	Neurologia medico-chirurgica	Comparison of the Interlaminar and Transforaminal Approaches for Full-endoscopic Discectomy for the Treatment of L4/5 Lumbar Disc Herniation	63(7)	313-320
						1year	0.87							
						2years	0.86							

				105	the transforaminal endoscopic lumbar discectomy(TEL D)	preoperative	0.51							
						1year	0.84							
						2years	0.84							
E378	2024	EQ-5D-5L	Clostridioides difficile Infections(CDI) Clostridioides difficile 感染症	39	Time1 (baseline)	CDI-	0.6		longitudinal	Igarashi A	J.J.A.Inf.D	Impact on Quality of Life by Clostridioides difficile Infections among Hospitalized Patients in Japan	98 (1)	8-19
				21		CDI+	0.63							
				18	Time2(90-day follow-up)	CDI-	0.74							
				7		CDI+	0.83							
				1	Time1 (baseline)	Age 50-59	0.5							
				2		Age 60-69	0.81							
				18		Age ≥70	0.62							
				1	Time2(90-day follow-up)	Age 60-69	1							
				6		Age ≥70	0.8							

E379	2025	EQ-5D-3L	chronic musculoskeletal pain 慢性筋骨格系疼痛	34	Usual care	baseline	0.57		longitudinal	Hayashi K	Sci Rep	Utilization of telemedicine in conjunction with wearable devices for patients with chronic musculoskeletal pain: a randomized controlled clinical trial	15(1)	1396
						1month	0.55							
						3month	0.57							
						6month	0.57							
				37	Telemedicine	baseline	0.6							
						1month	0.63							
						3month	0.64							
						6month	0.64							
E380	2024	EQ-5D-3L	chronic pain 慢性疼痛患者	2360	chronic pain	Total	0.565		A Cross-Sectional	Igari H	Front Pain Res	Classifying chronic pain using ICD-11 and questionnaires-reported characteristics in Japanese patients with chronic pain	10.3389	1430870

				1178		chronic primary pain	0.582							
				1182		chronic secondary pain	0.548							
				296		MG30.01 classification	0.499							
				882		other chronic primary pain	0.61							
E381	2025	EQ-5D-5L	Schizophrenia 統合失調症	12	videoconference-based cognitive behavioral therapy for psychosis+usual care.	pre	0.7	Cognitive Behavioral Therapy	longitudinal	Katsushima M	JMIR Form Res	Effectiveness of a Videoconference-Based Cognitive Behavioral Therapy Program for Patients with Schizophrenia: Pilot Randomized Controlled Trial	9	59540
						post(week8)	0.8							
				12	usual care.	pre	0.8							
						post(week8)	0.7							
E382	2024	EQ-5D	Lumbar spinal canal stenosis 腰部脊柱管狭窄症	410	microendoscopic laminectomy group	preoperative	0.57	Surgery	longitudinal	Nakamoto H	BMC Musculoskeletal Disord	Comparison between microendoscopic laminectomy and open posterior	25(1)	955

												decompression surgery for two-level lumbar spinal stenosis: a multicenter retrospective cohort study		
						postoperative	0.77							
				472	open proup	preoperative	0.57							
						postoperative	0.76							
E383	2024	EQ-5D-5L	pulmonary arterial hypertension 肺高血压症	110	Japan	Overall	0.8		A Cross-Sectional	R James White	Respir Med	Health-related quality of life and symptom concordance between patients and physicians in pulmonary arterial hypertension in the United States, Europe, and Japan	237	107869
				56		WHO-FC I : (World Health Organization Functional Class)	0.9							

				47		WHO-FC II	0.7							
				7		WHO-FCIII	0.6							
E384	2024	EQ-5D-3L	lumbar disc herniation 腰椎椎間板ヘルニア	270	preoperative low back pain Mild group(NRS0-3)	preoperative	0.54	Surgery	A Cross-Sectional	Nakajima K	Spine J	Correlation between severity of preoperative low back pain and postoperative outcomes in lumbar disc herniation surgery: a retrospective cohort study	0	1-11
						postoperative	0.85							
				343	preoperative low back pain Moderate group(NRS4-7)	preoperative	0.5							
						postoperative	0.81							
				315	preoperative low back pain Severe group(NRS8-10)	preoperative	0.4							
						postoperative	0.8							
E385	2024	EQ-5D-3L	Chronic Hemodialysis 慢性血液透析患者	110	Chronic Hemodialysis	All patients	0.755		A Cross-Sectional	Sugahara K	Cureus	Relationships Between Various Parameters of Prolonged	16(9)	70126

													Sedentary Bouts and Health-Related Quality of Life (HRQOL) in Patients on Chronic Hemodialysis: A Cross-Sectional Study		
E386	2024	EQ-5D-5L	patients post cardiac and thoracic aortic surgery 心臓および胸部大動脈手術後患者	92	EQ-5D Index score Maintenance/improvement group	transfer to the general ward	0.5	Surgery	longitudinal	Sato M	J Patient Rep Outcomes	Characteristics of longitudinal changes in quality of life and associated factors in patients post cardiac and thoracic aortic surgery: insights from a prospective cohort study	8(1)	111	
						discharge	0.76								
				83		At 6months	0.89								
				84		At 12months	0.89								
				25	EQ-5D Index score Declining group	transfer to the general ward	0.46								
						discharge	0.83								

				22		At 6months	0.78							
				22		At 12months	0.72							
E387	2024	EQ-5D-3L	Knee osteoarthritis 変形性膝関節症	78	total knee arthroplasty	preoperative	0.6	Surgery	longitudinal	Minoda Y	Sci Rep	Clinical outcomes and radiolucent line analysis in cementless mobile-bearing total knee arthroplasty: a prospective multicentre study in Japan	14(1)	20902
				78		6weeks	0.7							
				77		1year	0.9							
				77		2years	0.9							
E388	2024	EQ-5D-5L	atrial fibrillation 心 房細動患者	16	pulsed field ablation	baseline	0.92	Surgery	longitudinal	Yamane T	J Interv Card Electrophysi ol	Safety, efficacy, and quality of life outcomes of pulsed field ablation in Japanese patients with atrial fibrillation: results from the PULSED AF trial	10	1007
						12month	0.96							

E389	2024	EQ-5D-5L	pharmacotherapy on tension-type headache and migraine in children and adolescents 小児お よび青年の緊張型頭 痛および片頭痛	161	primary headache types	Total	0.82	physical therapy pharmacothera py	longitudinal	Adachi K	BMC Neurol	The effect of physical therapy integrated with pharmacotherap y on tension-type headache and migraine in children and adolescents	24(1)	316
				70		FETHH: Frequent episodic tension-type headache	0.9							
				36		CTTH: Chronic tension-type headache	0.75							
				43		EM: Episodic migraine	0.84							
				12		CM: Chronic migraine	0.78							
				70	FETHH: Frequent episodic tension-type headache	First	0.9							
						1month	0.9							
						Last	0.94							

				0.36	CTTH: Chronic tension-type headache	First	0.75									
						1month	0.82									
						Last	0.94									
				43	EM: Episodic migraine	First	0.84									
						1month	0.9									
						Last	0.94									
				12	CM: Chronic migraine	First	0.78									
						1month	0.82									
						Last	0.92									
E390	2024	EQ-5D-Y	inborn errors of metabolism 先天性代謝異常の患児	50	without developmental disabilities All patients	patient	0.957		A Cross-Sectional	Konomura K	Qual Life Res	Health-related quality of life and caregiver burden of pediatric patients with inborn errors of metabolism in Japan using EQ-5D-Y, PedsQL, and J-ZBI	33	3323-3333		
						proxy(caregiver)	0.979									
				26	Amino acid disorders	patient	0.962									

					oxidation disorders									
						proxy(caregiver)	0.974							
				5	with developmental disabilities All patients	patient	0.878							
				14		proxy(caregiver)	0.821							
				3	Amino acid disorders	patient	0.769							
				7		proxy(caregiver)	0.781							
				2	Citrullinemia type 1	proxy(caregiver)	0.589							
				6	Organic acid disorders	proxy(caregiver)	0.867							
				3	Methylmalonic acidemia	proxy(caregiver)	0.795							
				2	Propionic acidemia	proxy(caregiver)	0.931							
E391	2024	EQ-5D-3L	degenerative cervical myelopathy 頸椎症性脊髄症	17	clinical characteristics	Diabetes mellitus	0.5		A Cross-Sectional	Mizoguchi Y	Health Sci Rep	Association between diabetes, obesity, and quality of life in preoperative	7(8)	70005

												patients with degenerative cervical myelopathy: A cross-sectional study		
				69		Nondiabetes mellitus	0.5							
				27		Obesity	0.5							
				59		Nonobesity	0.5							
E392	2024	c TTO	pancreatic cancer すい臓がん患者	18	SD:stable disease	Physician	0.78		A Cross-Sectional	Sasahara Y	Front Health Serv	Quality-of-life survey of pancreatic cancer patients: a comparison between general public and physicians	4	127549 6
				201		General public	0.63							
				18	SD + Neutropenia G1/2 : State of SD with grades 1 - 2 neutropenia.	Physician	0.76							
				201		General public	0.65							
				18	SD + Neutropenia G3/4 : SD with	Physician	0.76							

					grades 3 - 4 neutropenia.									
				105		General public	0.51							
				18	SD + FN : SD with grades 3-4 FN	Physician	0.47							
				201		General public	0.32							
				18	SD + Diarrhea G1/2 : SD with grades 1 - 2 diarrhea.	Physician	0.7							
				105		General public	0.5							
				18	SD + Diarrhea G3/4 : SD with grades 3 - 4 diarrhea	Physician	0.55							
				201		General public	0.31							
				18	D + Nausea/Vomitin g G1/2 : SD with grades 1-2 nausea and vomiting.	Physician	0.62							
				201		General public	0.42							
				18	SD + Nausea/Vomitin g G3/4 : SD with grades 3-4	Physician	0.48							

				35		hyperglycemic (HG) group	0.73							
E394	2024	EQ-5D	non-Hodgkin's lymphoma 非ホジキンリンパ腫患者	60	All regimens	before chemotherapy	0.853	chemotherapy	longitudinal	Tanaka K	Oncol Lett	Quality of life assessment and cost-utility analysis of initial chemotherapy for patients with non-Hodgkin's lymphoma: A prospective analysis	28 (3)	430
						after chemotherapy	0.868							
				38	CHOP ± R, cyclophosphamide, doxorubicin, vincristine, prednisolone, rituximab	before chemotherapy	0.841							
						after chemotherapy	0.876							
				12	GBend, obinutuzumab, bendamustine	before chemotherapy	0.889							
						after chemotherapy	0.895							

				2	A-CHP, brentuximab vedotin, cyclophosphami de, doxorubicin, prednisolone	before chemotherapy	0.868							
						after chemotherapy	1							
				2	RHyperCVAD, rituximab, cyclophosphami de, doxorubicin, vincristine, dexamethasone	before chemotherapy	1							
						after chemotherapy	0.839							
				1	CODOX-M, cyclophosphami de, doxorubicin, vincristine, methotrexate;	before chemotherapy	1							
						after chemotherapy	0.461							
				1	RBend, rituximab, bendamustine	before chemotherapy	0.823							
						after chemotherapy	0.867							

				1	EPOCHR, etoposide, vincristine, cyclophosphami de, doxorubicin, prednisolone, rituximab	before chemotherapy	0.895							
						after chemotherapy	0.782							
				1	PolaRCHP, polatuzumab vedotin, rituximab, cyclophosphami de, doxorubicin, prednisolone	before chemotherapy	0.245							
						after chemotherapy	0.659							
				1	Bend, bendamustine; Devic, carboplatin, ifosfamide, etoposide, dexamethasone.	before chemotherapy	1							
						after chemotherapy	0.889							
				1	Devic	before chemotherapy	0.823							

						after chemotherapy	0.71							
E395	2024	EQ-5D-5L	mild cognitive impairment 軽度認知障害患者	24		pre	0.92	non-pharmaceutical multimodal intervention	longitudinal	Nakagawa S	Contemp Clin Trials Commun	Efficacy of a non-pharmaceutical multimodal intervention program in a group setting for patients with mild cognitive impairment: A single-arm interventional study with pre-post and external control analyses	40	101326
						post (8 month)	0.93							
E396	2024	EQ-5D-3L	Bone Metastasis Cancer 骨転移患者	200		initial assessment	0.57	Conservative Therapy	longitudinal	Fujii Y	Medicina	Evaluation of Changes in Activities of Daily Living and Quality of Life of Patients with Bone Metastasis Who Underwent Conservative Therapy through Bone	60	906

												Metastasis Cancer Boards		
						reassessment	0.64							
E397	2024	EQ-5D-5L	distal tibia fracture 遠位脛骨骨折	10		52 weeks after surgery	0.876	Surgery	A Cross- Sectional	Yamakawa Y	Injury	Preliminary results of stabilization of far distal tibia fractures with the distal tibial nail: A prospective, multicenter case series study	55	111634
E398	2024	EQ-5D-5L	heavy menstrual bleeding or anemia 月經過多や貧血	385	All population		0.79		A Cross- Sectional	Ito K	BMC Womens Health	The quality of life and work productivity are affected by the presence of nausea/vomiting in patients taking iron preparations for heavy menstrual bleeding or anemia: a population- based cross-	24	303

												sectional survey in Japan		
					presence of nausea	Yes	0.67							
						No	0.83							
					presence of vomiting	Yes	0.61							
						No	0.81							
					presence of nausea/vomitin g	Yes	0.67							
						No	0.84							
					patinets with anemia		0.77							
					presence of nausea	Yes	0.67							
						No	0.81							
					presence of vomiting	Yes	0.61							
						No	0.78							
					presence of nausea/vomitin g	Yes	0.66							
						No	0.81							
E399	2024	EQ-5D-5L	diabetes 糖尿病	35	sex	male	0.288		longitudinal	Oe M	Int Wound J	Impact of foot ulcer-related factors on	21	14895

												quality of life in patients with diabetes: Prospective observational study		
				38		female	0.3							
				48	history of foot ulcers	first-ever foot ulcer	0.169							
				25		recurrent foot ulcer	0.534							
				47	monofilament test	normal	0.282							
				26		abnormal	0.316							
				15		first visit	0.542							
						healing complete	1							
E400	2024	EQ-5D-5L	musculoskeletal disorders 筋骨格系障害	51	All		0.759		A Cross-Sectional	Takahashi H	BMC Musculoskeletal Disord	Safety and feasibility of in-hospital autonomous transportation using a driverless mobility for patients with musculoskeletal disorders: preliminary	25	352

												clinical study to achieve mobility as a service in medical care		
					group s		0.76							
					group d		0.759							
E401	2024	EQ-5D-3L	lumbar spinal stenosis and disk herniation 腰部脊柱管狭窄症および椎間板ヘルニア患者	144	LSS		0.526		A Cross-Sectional	Mizoguchi Y	Eur Spine J	Construct validation of the Japanese Core Outcome Measures Index and the impact of diseases on patient-reported outcome measures in preoperative patients with lumbar spinal stenosis and disk herniation: a single-center observational study	33	2198-2205
				52	LDH		0.427							
E402	2024	EQ-5D-5L	breast cancer 乳がん	18	cryoablation	baseline	0.9	cryoablation	longitudinal	Kawamoto H	Breast Cancer	Percutaneous ultrasound-guided cryoablation for	31	695-704

												early-stage primary breast cancer: a follow- up study in Japan		
						6M	0.9							
						12M	0.89							
						24M	0.95							
						36M	0.9							
						60M	1							
E403	2024	EQ-5D-5L	older critical illness survivors 高齢重篤 疾患	242	not frail	admission	0.8		longitudinal	Hongo T	BMC Geriatr	Long-term, patient- centered, frailty- based outcomes of older critical illness survivors from the emergency department: a post hoc analysis of the LIFE Study	24	257
						6M	0.73							
				148	frail	admission	0.58							
						6M	0.5							
E404	2024	EQ-5D-5L	Premenstrual Symptoms 月経前 症状	102	no or mild PMS	cycle1	0.843	Medication treatment	A Cross- Sectional	Takeda T	Int J Womens Health	The Japanese Version of the Daily Record of	16	299- 308

												Severity of Problems for Premenstrual Symptoms: Reliability and Validity Among the General Japanese Population		
						cycle2	0.87							
				11	moderate to severe PMS	cycle1	0.743							
						cycle2	0.751							
E405	2024	TTO	type 2 diabetes and obesity 2 型糖尿病および肥満	138		current weight	0.783		A Cross-Sectional	Matza L.S	J Med Econ	Health state utilities associated with weight loss: preferences of people with type 2 diabetes and obesity in Japan	27	370-380
						2.5% weight reduction	0.796							
						5% weight reduction	0.804							
						7.5% weight reduction	0.816							
						10% weight reduction	0.82							

						12.5% weight reduction	0.825							
						15% weight reduction	0.83							
						20% weight reduction	0.827							
E406	2024	EQ-5D-5L	peripheral neuropathic pain after thoracic surgery 末梢神經障害性疼痛	60	mirogabalin add-on group	baseline	0.5179	Medication treatment	longitudinal	Miyazaki T	BMC Cancer	Efficacy and safety of add-on mirogabalin to conventional therapy for the treatment of peripheral neuropathic pain after thoracic surgery: the multicenter, randomized, open-label ADMIT-NeP study	24	80
				50		8w	0.8497							
				65	conventional treatment group	baseline	0.6153							
				53		8w	0.8385							

E407	2023	EQ-5D-3L	Lumbar Degenerative Disease 腰椎変性疾患	22	achievement of MCID for EQ-5D at discharge	achieved	0.53 (median)	surgery	A Cross-Sectional	Ishibashi Y	Healthcare	Preoperative Motor Function Associated with Short-Term Gain of Health-Related Quality of Life after Surgery for Lumbar Degenerative Disease: A Pilot Prospective Cohort Study in Japan	11	3103
				28		not achieved	0.59 (median)							
E408	2023	EQ-5D-5L	Adult-Onset Hypophosphatasia 成人発症型低ホスファターゼ症	1	Asfotase Alfa	pretreatment	0.757	Medication treatment	longitudinal	Hidaka N	JBMR Plus	The Effect of Asfotase Alfa on Plasma and Urine Pyrophosphate Levels and Pseudofractures in a Patient With Adult-Onset Hypophosphatasia	7	10842
						6M	0.895							

	2025	EQ-5D-5L	Adults with Atopic Dermatitis 成人のアトピー性皮膚炎	882	Atopic Dermatitis Severity self-reported Patient-Oriented Eczema Measure (POEM)	clear/almost clear	0.895(median)		observational study	Hiroyuki Murota	Dermatol Ther (Heidelb)	Quality of Life in Adults with Atopic Dermatitis in Relation to Disease Severity: Nationwide Data in Japan	Online ahead of print.	Online ahead of print.
						mild	0.895(median)							
						moderate	0.895(median)							
						severe/very severe	0.867(median)							
	2025	EQ-5D-5L	degenerative cervical myelopathy 頸椎症性脊髄症	80	Skip-Fixation Group	Preop.	0.58	surgery	Multicenter, Randomized Controlled Trial	Koji Tamai	J Bone Joint Surg Am . 2025 Jan 15;107(2):144-151.	Open-Door Cervical Laminoplasty Using Instrumentation of Every Level Versus Alternate Levels: A Multicenter, Randomized Controlled Trial	107(2)	144-151

						1 yr postop.	0.78							
						2 yr postop.	0.78							
				75	All-Fixation Group	Preop.	0.63							
						1 yr postop.	0.74							
						2 yr postop.	0.76							
2025	EQ-5D-3L	anterior urethral strictures 前部尿道狭窄症	100			Preoperative	0.75	surgery	retrospective study	Takahiro Minami	Int J Urol	Surgical and patient-reported outcomes of staged urethroplasty for anterior urethral strictures: A comprehensive analysis	Online ahead of print	Online ahead of print
						Postoperative	0.92							
2025	EQ-5D-5L	osteoporosis 骨粗鬆症	532			baseline	0.80		prospective cohort study	Yoshinari Matsumoto	Geriatr Gerontol Int	Diet-related quality of life may directly and indirectly affect health-related quality of life through protein intake and frailty in patients with osteoporosis: Results from a	25(2)	243-250

												prospective cohort study		
						1year	データなし							
		EQ-5D-5L								Tetsuo Saito	J Palliat Med	Health Utility of Pain Response Versus Nonresponse to Palliative Radiation Therapy for Symptomatic Bone Metastases: Analyses Based on Real-World Data from 26 Centers	28(1)	42-49
		EQ-5D-5L								Kazunori Honda	Int J Clin Oncol	Prospective changes in financial toxicity and health-related quality of life in patients with gynecologic cancer	30(2)	380-388

	2024	EQ-5D-5L	metastatic spinal tumors 転移性脊髄腫瘍	42	Spine Instability Neoplastic Score 0-6	Preop	0.40	surgery	multicenter prospective study	Hideaki Nakajima	J Neurosurg Spine	Surgical strategy for metastatic spinal tumors based on Spine Instability Neoplastic Score and patient-reported outcomes: JASA multicenter prospective study	29	1-12
						1 mo	0.65							
						6 mos	0.72							
				205	Spine Instability Neoplastic Score 7-12	Preop	0.25							
						1 mo	0.62							
						6 mos	0.66							
				70	Spine Instability Neoplastic Score 13-18	Preop	0.25							
						1 mo	0.58							
						6 mos	0.73							
				89	Spine	Preop	0.26							

					Score 7-9, w/o Fusion									
						1 mo	0.73							
						6 mos	0.74							
				80	Spine Instability Neoplastic Score 7-9, Fusion Surgery	Preop	0.26							
						1 mo	0.60							
						6 mos	0.66							
	2024	EQ-5D-5L	osteoporotic vertebral fracture		Balloon kyphoplasty	at the admission, Ultra early (<14 days)	0.31	surgery	retrospective cohort study	Masatoshi Teraguchi	J Orthop Sci	Effectiveness of ultra-early balloon kyphoplasty at one year after osteoporotic vertebral fracture	Online ahead of print	Online ahead of print
						at one year follow up, Ultra early (<14 days)	0.79							
						at the admission, Ultra early Early (14e28 days)	0.45							
						at one year	0.66							

						follow up, Ultra early Early (14e28 days)								
						at the admission, Ultra early Conventional (29e90 days)	0.46							
						at one year follow up, Ultra early Conventional (29e90 days)	0.65							
		EQ-5D-5L	COVID-19							Toshiki Miwa	J Public Health (Oxf)	Association between public health measures and the public's well-being during the pandemic: a nationwide Japanese study	Online ahead of print	Online ahead of print
	2024	EQ-5D-5L	spinal metastases from prostate cancer 前立腺癌に よる脊椎転移					surgery	prospective multicenter registry study	Ryosuke Hirota	J Orthop Sci	Impact of surgical treatment on patient reported outcome in patients with spinal	Online ahead of print	Online ahead of print

												metastases from prostate cancer		
		EQ-5D-5L	原発性静脈瘤					シアノアクリレート接着剤	multicenter prospective consecutive registry study	Takahiro Imai	Phlebology	Mid-term results of cyanoacrylate closure for the treatment of incompetent great and small saphenous veins: Findings from a Japanese prospective consecutive multi-center registry: Mid-term results of cyanoacrylate closure	40(1)	21-28
	2024	EQ-5D-5L	ossification of the posterior longitudinal ligament 後縦靭帯骨化症	51		preoperatively	0.527	surgery	longitudinal	Sadayuki Ito	J Bone Joint Surg Am	Ten-Year Follow-up of Posterior Decompression and Fusion Surgery for Thoracic Ossification of the Posterior Longitudinal Ligament	106(17)	1600-1609

						10-yr postop	0.682							
2024	EQ-5D-5L	急性期精神疾患	491			Non-readmitted group Readmitted group	0.82 0.80		multicenter prospective longitudinal study	Sosei Yamaguchi	Soc Psychiatry Psychiatr Epidemiol	Associations between readmission and patient-reported measures in acute psychiatric inpatients: a multicenter prospective longitudinal study	60(1)	79-93
2024	EQ-5D-5L	Japanese adults 日本の成人	28405	oral conditions	total		0.90		A Cross-Sectional	Yusuke Matsuyama	Community Dent Oral Epidemiol	Health utility attributable to oral conditions in Japanese adults	52(6)	911-918
			15681			Oral Health Impact Profile: 0	0.93							
			5925			Oral Health Impact Profile: 1-5	0.90							
			6799			Oral Health Impact Profile: 6-56	0.84							

2024	EQ-5D	adult spinal deformity (ASD) 脊柱変形症	371		LSTV- LSTV+	0.839 0.789		cross-sectional study	Jun Ouchida	Eur Spine J	Analysis of spinopelvic parameters in adult patients with lumbosacral transitional vertebrae	33(8)	2952-2959
2024	EQ-5D-5L	Metastatic Spinal Tumors 転移性脊髄腫瘍	171						Ryosuke Hirota	Spine (Phila Pa 1976)	Prospective Registration Study for Establishing Minimal Clinically Important Differences in Patients Undergoing Surgery for Spinal Metastases	49(22)	1539-1547
2024	EQ-5D-5L	bone sarcoma 骨肉腫 soft tissue sarcoma 軟部肉腫	235			0.71		retrospective cohort study	Hideyuki Kinoshita	Anticancer Res	Effectiveness of Carbon Ion Radiotherapy for Bone and Soft Tissue Sarcoma in Older Patients	44(4)	1773-1780

J103	2024	EQ-5D	寛骨臼形成不全	35	全体	術前	0.80	偏心性寛骨臼回転骨切り術	縦断的	橋爪 大弥	Hip Joint	偏心性寛骨臼回転骨切り術における中枢性感作評価と術後成績の関連性	50 (2)	668-670
J104	2024	EQ-5D-5L	腎不全	45	全体	術前	0.84	腎移植	縦断的	佐藤 功	日本臨床腎移植学会雑誌	腎移植術 1 年後の QOL と身体機能の関連 EQ-5D-5L を用いた検討	12 (1)	100-105
						1年後	0.86							
J105	2024	EQ-5D-5L	小児慢性緊張型頭痛患者	1		35 病日目	0.67	薬物療法 理学療法	横断的	足立 功浩	Pain Rehabilitation	小児慢性緊張型頭痛患者における薬物療法と理学療法の併用効果と,多面的評価に基づいた医療連携の重要性	14 (1)	33-40
J106	2024	EQ-5D-5L	終末期がん患者	10	死亡 4 週間前	在宅群	0.467	ターミナルケア	縦断的	高橋 奈央	医療と社会	終末期がん患者における在宅療養と病院療養に関する QOL と費用の記述	34 (1)	79-89
				8		病院群	0.254							
				9	死亡 3 週間前	在宅群	0.581							
				13		病院群	0.244							
				14	死亡 2 週間前	在宅群	0.498							
				21		病院群	0.112							
				18	死亡 1 週間前	在宅群	0.282							

				26		病院群	0.052							
J107	2024	EQ-5D-5L	地域在住要支援, 要介護高齢者	39	全体	初回	0.654	通所・訪問サービス	縦断的	鹿田 将隆	作業行動研究	地域在住要支援・要介護高齢者の作業同一性の経時的変化の特徴および作業同一性とADL・健康関連 QOLとの関係	27(4)	212-220
						3ヵ月後	0.657							
				20	作業同一性質問紙(OIQ)低群	初回	0.646							
						3ヵ月後	0.658							
				19	作業同一性質問紙(OIQ)高群	初回	0.654							
						3ヵ月後	0.657							
J108	2023	EQ-5D-5L	心血管疾患患者	448	心血管疾患患者	全体	0.88	心臓リハビリテーション	横断的	金島 侑司	理学療法兵庫	心臓リハビリテーション患者におけるヘルスリテラシーと効用値との関係性:多施設臨床研究	29	38-40
				179		高ヘルスリテラシー群	0.89							
				269		低ヘルスリテラシー群	0.87							

						一群									
J109	2024	EQ-5D-5L	神経筋疾患患者	221	神経筋疾患患者	全体	0.72		横断的	中原 圭一	難病と在宅ケア	神経難病センターを基盤とした神経疾患レジストリの構築と運用	29 (11)	58-60	
		EQ-5D-5L	通所C利用者	27						三宅 英司	自立支援介護・パワーリハ学	コーチングによる通所型短期集中予防サービスにおける新たな社会参加獲得に関連する要因の検討	18(2)	100-107	
	2024	EQ-5D	慢性腰痛症患者	10		介入前	0.414	いきいきリハビリノートを用いた運動促進法	縦断的	藤井 孝充	国立病院機構四国こどもとおとなの医療センター医学雑誌	慢性腰痛症に対するいきいきリハビリノートを用いた運動促進法の短期治療成績	11(1)	1-4	
						介入後	0.66								
	2023	EQ-5D-3L	Total hip arthroplasty 股関節全置換術	286		術前	0.618	人工股関節全置換術	縦断的	Yakushiji Kanako	Japan Journal of Nursing Science	人工股関節全置換術施行患者の長期的健康関連 QOL と日本の国民皆保険制度における費用対効果分析 (Long-term health-related quality of life of total hip arthroplasty patients and cost-effectiveness analysis in the Japanese universal health insurance system)(原著論文/英語)	20(4)	1-14	

				286		術後 1 年	0.853							
				260		術後 3 年	0.871							
				229		術後 5 年	0.886							
				227		術後 7 年	0.852							
		EQ-5D-5L								木村 青児	日本足の外科学会雑誌(0916-7927)45 巻 1 号 Page165-167(2024.08)	高齢者の足関節骨折術後の早期荷重の検討 多施設コホート研究 (原著論文)		
		EQ-5D								嶋田 亘	Phil 漢 方 (1347-6882)102 号 Page10-13(2024.07)	整形外科領域における 人參養榮湯の有用性 (原著論文)		
2023	EQ-5D-5L	α 1-アンチトリプシン欠乏症	1	急性肺炎治療後	α 1-アンチトリプシン補充療法	記載なし	α 1-アンチトリプシン補充療法	症例報告	鳴海 圭倫	旭川医療センター医学雑誌	急性肺炎治療後 α 1-アンチトリプシン補充療法を長期間継続した α 1-アンチトリプシン欠乏症の 1 例(原著論文)	9	18-21	
2023	EQ-5D-5L	婦人科病棟看護師	25					アンケート調査	三浦 貴子	静岡赤十字病院研究報	化学療法誘発性末梢神経障害評価シート導入による病棟看護師の看護実践の変化(原著論文)	43(1)	14-21	
2023	EQ-5D-3L	soft-tissue sarcoma of the thigh 大腿部発生軟部肉腫	15		大腿軟部肉腫	記載なし	切除術	縦断的	Tanaka Atsushi	International Journal of Clinical Oncology	大腿軟部肉腫の筋力と機能回復 前向き研究 (Muscle strength and functional recovery for soft-tissue sarcoma of the thigh: a prospective	28(7)	992-927	

												study)(原著論文/英語)		
2023	EQ-5D	関節リウマチ	146		頸部痛 (-) 頸部痛 (-)	0.82 0.68		横断的 (multicenter study)	Suzuki Akinobu	Modern Rheumatology	関節リウマチ患者における頸部痛とその関連因子(Neck pain and related factors in patients with rheumatoid arthritis)(原著論文/英語)	33(3)	503- 508	
2023	EQ-5D- 5L	関節リウマチ	2443		寛解期	0.9		後方視的	Sakai Ryoko	Modern Rheumatology	IORRA データベースに基づく臨床的寛解を達成した関節リウマチ患者の QOL に関連する主観的 症状 (Subjective symptoms contributing to the quality of life of rheumatoid arthritis patients with clinical remission from the IORRA database)(原著論文/英語)	33(3)	496- 502	
2023	EQ-5D- 3L	認知症カフェ参加住民	20	軽度認知 症, フレイ ル予備群			認知症カ フェへの 参加	縦断的	岡藤 農	山口作業療法	認知症カフェでのフレイル予防対策 地域支援で私達専門職が行える事(原著論文)	15(1)	43-45	

	2023	EQ-5D-5L	gynecologic cancer 婦人科がん	100	gynecologic cancer receiving anti-cancer drug treatment for > 2 months		0.773		横断的 (multicenter study)	Kajimoto Yusuke	International Journal of Clinical Oncology	婦人科癌患者の経済毒性と健康関連 QOL との関連 (Association between financial toxicity and health-related quality of life of patients with gynecologic cancer)(原著論文/英語)	28(3)	454-467
	2023	EQ-5D	chronic knee pain 慢性膝関節痛	46		資料に基づく教育 簡潔な自己運動教育	0.760 0.792	疼痛教育	RCT	Jinnouchi Hiroshige	Modern Rheumatology	慢性膝関節痛を有する成人に対する簡単なセルフエクササイズ教育無作為化比較試験 (Brief self-exercise education for adults with chronic knee pain: A randomized controlled trial)(原著論文/英語)	33(2)	408-415
	2023	EQ-5D-3L	hand disease 手の疾患	1038		total	0.66		縦断的	Kosugi Kenji	Journal of Orthopaedic Science	手部疾患患者と膝関節、腰椎などの筋骨格障害患者の健康関連 QOL にみられる性差の比較(Comparison of gender differences in health-related quality of life between patients with hand disease and those	28(1)	147-151

													with other musculoskeletal disorders of the knee and lumbar spine)(原著論文/英語)		
				503		men	0.72								
				535		women	0.68								

令和6年度厚生労働行政推進調査事業費補助金 政策科学総合研究事業

分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論
およびツール等の開発に関する研究
分担研究報告書

QALY(Quality-adjusted life year:質調整生存年)と障害者差別
-医療資源配分の倫理的基盤に立ち戻って-

研究分担者 齋藤 信也

岡山大学大学院 保健学研究科

研究の要旨

米国では、QALYは、障害者や高齢者の差別に繋がるとされ、それを用いることは制限されてきたが、2024年1月にそれがさらに厳しく禁止された法案が米国連邦議会の下院を通過した。そこで展開された議論は、命は等しく平等であるという普遍的な価値観に基づいており、実際には党派性に基づく政争の要素はあるとしても、決して無視できないものである。

そこで今回は、QALY批判の基盤をなす倫理学の言説に立ち戻って、検討を行った。特に、QALY trap という、障害者のようにスタート時点のQOLが低い場合は、むしろQALYの大きな改善が望めるが、障害者に配慮してそこを平等にしてしまうと、QALY増加というCEAの根幹をなす評価が成立しなくなるという代表的なQALY批判の論法をもとに、平等主義としての格差原理、運の平等主義、目的論的平等主義、優先主義、十分主義について、医療資源配分との関連を念頭に検討を行った。

続いて、平等主義によるQALYの修正という観点から、①Equity Weights and Social Welfare Functions (公平加重と社会厚生関数) ②Mathematical Programming (数学的プログラミング) ③MCDA(Multi-Criteria Decision Approach:多基準意思決定アプローチの3つのアプローチを検討した。

次に、公平加重の具体的な方法として、QALY shortfall を用いた閾値の緩和やICERの加重について、ノルウェー、オランダ、英国の取り組みを紹介するとともに、その基盤となる倫理的観点として、フェアインギングと疾病負担に対する公平性からの論点について検討した。

最後に、これら議論を踏まえて、我が国の費用対効果評価制度への提言を行なった。

A. 研究の目的

費用対効果評価の方法論は毎年のようにバージョンアップされている一方で、それを用いた医療資源配分についての批判は絶えない。特に QALY は障害者差別につながるという根強い批判は、ついには米国で QALY の使用を厳しく禁止する法案の下院通過という形になって表れている。

今回の研究の目的は、QALY は障害者差別につながることから使用すべきでないという言説の基盤をなす倫理的学説を検討することで、こうした批判への対応方策を検討することである。

B. 研究方法

関連する論文、図書、報道記事等を渉猟し、検討した。引用した文献については、出典を明らかにしている。

C. D.研究結果と考察

以下に示す。

I. QALY (Quality-adjusted life year:質調整生存年) に対する昨今の米国の動向

2024 年 2 月 7 日に米国の連邦下院において、マクモリス・ロジャーズ議員が提出した「障害者を差別から守る」ために QALY の使用を禁止する法案が可決されたとの報道があった¹⁾。法案名は「Protecting Health Care for All Patients Act(H.R. 485) (全患者に対する医療を保護する法)²⁾」であり、賛成 211、反対 208 で下院を通過している。

同法案は、『社会保障法第 1182 条』を改正し、連邦医療プログラムの適用範囲と支払いの決定において、QALY や同様の尺度の使用を禁止する」ものであり、具体的には、社会保障法 1182 条の 1320e-1. 「比較臨床効果研究の特定の使用に関する制限」のセクションの条文を「長官は、本タイトル第 1320e 項に基づき実施された比較臨床有効性研究 (Comparative Effectiveness Research: CER) から得られた証拠または知見を、高齢者、身体障害者、または末期患者の延命を、若年者、身体障害者でない者、または末期患者でない者の延命よりも価値が低いとみなすような方法で、第 XVIII 章に基づく適用、償還、または奨励プログラムを決定する際に使用してはならない (傍点筆者)」と修正するものである。

報道では「障害者差別 (傍点筆者) に繋がる QALY の使用を厳しく制限する法案」となっているが、条文では、「高齢者、身体障害者、末期患者」と例示し、QALY 及びその類似物については、そうでない人々の延命よりも価値が低いとみなす方法という表現をとっている。

ロジャーズ議員は法案提出理由として、「すべての人の命には価値があります。政府は、障害や慢性疾患があるからといって、容赦なく人の命に価値をつけ、ケアを拒否すべきではありません」「患者や、愛する人の命を守るために闘っている人たちは、必要なケアを受けることを積極的に妨げる制度を是正するよう、議会に訴えてきました。私は、障害や慢性疾患、希少疾患を持つ患者に希望を与えるこの重要な法案を支持できることを誇りに思いま

す」と述べている¹⁾。改めて後程まとめるが、ここで繰り出されている QALY 批判の倫理的な論拠としては、「①命の価値に人による違いはない」「②政府がその命に価値をつけ、ケアを拒否することは許されない」「③障害や慢性疾患のある人の命の価値は低く見積もられる可能性があるが、それは許されない」「④QALY のようなものを用いて医療資源配分をすることを禁止すべし」の 4 点が挙げられている。

また、この法案に賛成討論を行ったスミス議員は「ワシントンや国中の官僚は命に値段をつけようとしています。全患者医療保護法は、すべての命に価値があることを再確認し、個々のアメリカ人がスプレッドシート上の単なる金銭に貶められるのを防ぎます。年齢や障害、その他の慢性疾患の有無に関わらず、個人には一人一人の価値があるのです。」と述べている¹⁾。ここでは、「①命に値段をつけてはいけない」「②年齢、障害や慢性疾患の有無にかかわらず人には同じ価値がある」という主張がなされている。

さらに、医師であり下院議員であるバージェス氏は、「すべての生命には価値があります。QALY のような指標によって人の生命に金銭的価値を与えることは、この基本原則を損ない、すべての人、特に障害や慢性疾患を持つ人に質の高い医療を提供する医師の能力を阻害します。今日、下院が正しいことを行い、この法案を可決したことに感謝します。上院でも速やかに可決されることを要望します。」と述べている¹⁾が、ここでは QALY を用いて医療資源配分をおこなうことは、医師の能力を邪魔するという医師ならではの視点が示されている。これは、診療における医師の裁量に、経済的観点から掣肘を加えることは許されないというプロフェッショナル・フリーダムの原則に基づいた批判といえる。

本報告書作成時点（2025 年 4 月）において、上院において同法案が通過したとの情報はない。また、2025 年 1 月にトランプ大統領が就任したことが、この法案の行方にどのような影響を与えるのかは、見通せない。しかし、QALY を用いる医療経済評価的な手法を厳しく制限することを是とする法案が下院を通過しているという、米国の現状は冷静に見つめる必要がある。

II. アカデミアの反応

一方これに対するアカデミアの反論としては、カプランらが、「重要なのは、QALY が身体、発達、知的障害を持つ人々を差別しないということである。実際、QALY は極めて平等主義的に設計されている。この特徴は、QALY 方法論に詳しい人たちの間でよく聞かれる『1 QALY は 1 QALY である』という言葉に要約されている。これは、QALY で表された健康状態の改善は、これらの改善を経験した個人の他の属性（初期の健康状態、年齢、社会的地位など）に依存しないことを強調している。また、QALY を使用して健康介入のメリットを評価する場合（たとえば、冠動脈疾患の患者に対する冠動脈バイパス移植手術）、評価では通常、異なる状態の手術患者を区別しない。むしろ、エリートマラソン選手であれ下半身麻痺の患者であれ、すべての受診者における手術の平均的なメリットに焦点が当てられる。」と、冷静に論点を整理して、説得力のある反論を展開している³⁾。

議員たちの国民の感情に訴えかけるような決めつけ（QALY は絶対悪）に対して、「①

QALYは非常に平等主義的に設計されている」「②QALYで測定される健康改善度は、初期の健康状態、年齢、社会的地位等には依存していない」「③QALYはその治療の平均的なメリットに焦点を当てており、患者を区別していない」という主張は、少しでもこの分野のことを知っている人にとっては、ごく当たり前のことと言える。しかし一方で、こうした正論は、アカデミア内では通用しても、一般市民に対してどれだけ理解が得られるかについては疑問が残る。

III. 民主党政府の対応

当時の民主党政府は、この法案の下院での採決に当たり、以下のような声明を2024年2月5日に発出している⁴⁾。「政府は、予防・公衆衛生基金から資金を剥奪し、その重要性を損なうことによって、医療費負担適正化法を弱体化させようとする動きに反対することから、同法案(H.R.485)に反対する。議会多数派は、予防・公衆衛生基金から資金を奪おうとしているが、同基金は、疾病を予防するための重要な投資を支援するものであり、米国人が予防給付を安価に受けられるようにするものである。政府は、障害者は生活のあらゆる面で平等であり、包摂的に扱われており、アクセスを享受していると信じている。私たちは、ルールの制定プロセスやその積極的な施行を通じて、医療における障害者に対する差別と闘っている。医療費負担適正化法は、メディケアが質調整生存年(QALY)を用いることを禁止しており、インフレ抑制法も同様に、メディケアの薬価交渉のためにQOLや類似の指標を用いたエビデンスを考慮することを禁止している。しかし、議会の共和党議員は皆、インフレ防止法に反対投票し、高齢者や障害者のために薬価を引き下げるという本政権の取り組みに反対し続けている。政府は、すべてのアメリカ人が手の届く価格で効果的な医療を受けられるよう努力している。より質の高い、より低コストの医療を提供するためには、効果測定が不可欠であり、それは、医療制度の重要な部分をなしている。」

IV. オバマケアと医療費負担適正化法(ACA)

この政府声明の内容を理解するためには、2009年のいわゆるオバマケア導入時の共和党の動向、端的に言えば、彼らが激しい批判を展開した時点に遡る必要がある。ACA(医療費適正化法)では、PCORI(オバマケアで設立されたアウトカム研究(Comparative Effectiveness Research)を行う機関)は、どのタイプの医療が費用対効果にすぐれているか、あるいは、推奨すべきかどうかということを決めるために、「閾値」として費用/QALYは求めてはいけなし、用いてもいけないとされた⁵⁾。

さらには、費用/QALYではなくても、一人ひとりの障害の程度を理由として生命の価値を割り引くような同様の尺度の使用も禁止された⁵⁾が、この医療資源配分の研究のために設けられたこの機関を、「Death Panel(死の委員会)」と称して、口を極めて痛罵したのは、共和党の副大統領候補であったサラ・ペイリン氏であった⁶⁾。

「私が知っていて愛しているアメリカは、私の両親やダウン症の赤ちゃんが、オバマの“死の委員会(Death Panel)の前に立たされ、官僚たちが“社会における生産性のレベル”という主観的な判断に基づいて、彼らに価値があるかどうかを決めなければならないよう

な国ではない。このような制度は、まさに悪魔の所業である。」⁶⁾との主張は、同氏らしい激しい調子に満ちているが、要約すれば、「①QALY を用いた医療資源配分を導入すると、高齢者や障害児が社会における生産性でその価値を評価される。」「②そのような制度は米国では絶対に許されない。」ということになる。今回の法案とオバマケア時の QALY 使用禁止には、いずれも共和党が、QALY というものは障害者や高齢者を差別するものであり、それを用いた評価や医療資源配分は絶対に許さないと断言しているわけである。結局、民主党オバマ政権は、オバマケア本体を通すために、この部分では妥協を行い、メディケアが QALY を用いることを実質的に禁止することとなった。

V. インフレ防止法 (IRA) と製薬業界のロビーイング

ここで思い出してほしいのは、今回の法案に対する政府声明の中の、「医療費負担適正化法は、メディケアが質調整生存年 (QALY) を用いることを禁止しており、インフレ抑制法も同様に、メディケアの薬価交渉のために QOL や類似の指標を用いたエビデンスを考慮することを禁止している。しかし、議会の共和党議員は皆、インフレ防止法に反対投票し、高齢者や障害者のために薬価を引き下げるという本政権の取り組みに反対し続けている。」の部分である。ACA と同様に、バイデン政権のインフレ抑制法 (IRA) でも、QALY や類似の効果指標を用いてメディケアが価格交渉をすることは禁止されているのに、その法案に反対した共和党は、要は薬価引き下げに反対しているだけであり、薬価が下がることで、高齢者や障害者がその恩恵に被ることについては、頬被りをしていることを批判しているのである。もっと端的に言えば、IRA に基づき、高額な医薬品の値引き交渉が許されたメディケアが、その根拠として QALY 的なものを決して使うことのないようにして、薬価を高額で維持したいという共和党支持者のロビーイングに応じたに過ぎないのではないかと揶揄しているのである。

共和党が伝統的に障害者や高齢者に優しい政策をとってきた政党とは言い難く、ここで繰り出している倫理的批判は、高齢者や障害者の味方を装った詭弁術に近いものかもしれない。しかし一方で、そこだけを取り上げると、民主党側も受け入れざるを得ない普遍性のある主張であることは間違いない。意図はともかくとして、QALY が倫理的に見て障害者差別や高齢者差別に繋がる危険性を孕んでいるという言説には、説得力がある。そこで次に、その QALY を積極的に導入している英国におけるこの問題について、眺めてみたい。

VI. 英国での論争と Double jeopardy 論

英国、正確に言えば連合王国のうちイングランドとウェールズに関しては、1999 年に設立された NICE (National Institute for Health and Care Excellence) が QALY を効果指標に用いた費用対効果評価の結果を NHS (National Health Service) における医薬品の償還の可否判断に利用するようになって以来、QALY 批判は執拗に繰り返されてきた。

その中で、最も有名なものは、Harris による「Double jeopardy 論」である⁷⁾。Double jeopardy というのは、法律用語として「同一の罪について二度裁かれる」ことを意味しており、このことは例えば日本の憲法にも「何人も、実行の時に適法であつた行為又は既に無罪

とされた行為については、刑事上の責任を問はれない。又、同一の犯罪について、重ねて刑事上の責任を問はれない。(39条)」とあるように、「一事不再理」の原則により、禁止されている。この用語を QALY の欠点に向けて用いることで、説得力のある QALY 批判となっている。

Harris が用いている例では、「車いす生活のミッシェルは、効用値が 0.5 であり、ほぼ健全なニーナは効用値が 0.95 である。この二人が心臓移植をうけてさらに 40 年生存する場合、ミッシェルの QALY は 20 (0.5 x 40)、対してニーナの QALY は 38(0.95x40)となることから、一人しか移植が受けられない場合は、ミッシェルは選ばれないことになる。」これを受けて、Harris は「ある個人は、不運にも、一度災難の犠牲者になってしまったため、二度目のおそらく更に深刻な不幸な状態を要求される。最初の災難でその人は QOL が低下した状態になる。そしてその低い QOL のために救命治療の候補者から除外されたり、わずかに病状を改善させる機会をほとんどまたはまったく与えられないことになる」と QALY を批判している。つまり、一度目は車いす生活になるという不幸に遭遇しただけでなく、それが原因となって、その後の有効な治療が受けられなくなる（車いす生活の QOL が低いことに起因して QALY の値が小さくなる）という二重の不幸に見舞われるというのである。これは法律でも禁止されている Double jeopardy に当たるとするのが、「QALY の Double jeopardy 論」である。

これに対して、QALY 擁護派であり、功利主義者の代表である Singer は、確かに Double jeopardy は存在しているが、それは QALY の宿命であると一定程度の譲歩をしている⁸⁾。さらにこのことは直観的には不公正であるとまで述べている。

しかし一方で、両方の命は助けられないことから、選別が必要となった場合、合理的なエゴイスト(rational egoist)はこうした選別を忌避して、両方死亡することは選ばないはずであるとする。そこでここに、ロールズの有名な「無知のベール」という思考実験を援用し、自分はミッシェル、ニーナどちらの立場になるかわからない(無知のベールに覆われている)時に、より高い利益を有する患者の方を救命する、つまり、救命される患者の利益が最大化される介入を選択するはずであると主張する。つまり人々は、QALY に基づく医療資源配分理論を採用するはずと結論付けている。

この論争は正確には NICE 設立前に行われたものであるが、当時既に QALY を用いた医療経済評価は行われており、それが国の政策に取り込まれる機運の中で行われたものである。また倫理学者対倫理学者の論争ということもあり、ロジックの競い合いといった側面もにじみでている。

その後 NICE が実際にアルツハイマー病に対する治療薬が費用対効果に見合わないという理由で非償還という判断を下したことで、再び Harris の反 QALY 魂に火がつき、論争が再燃することとなった^{9) -12)}。

そこで Harris は、「NICE は、認知症治療薬のコストが高すぎ、『NHS にとって適切と考えられる費用対効果の範囲外』であるとして、NHS 患者への投与禁止を提案している。こ

これは、NICE がこれらの薬剤がアルツハイマー病の治療に有効であることを認めているにもかかわらず、また NICE がさらに高価な治療法を承認しているにもかかわらず、である。その結果、何千人ものアルツハイマー病患者が、唯一の治療法を拒否されることになる。これは邪悪か愚行、あるいはその両方としか考えられない。同時に NICE は、皮肉という感覚を持ち合わせないまま、社会的価値判断に関するガイドラインの公開コンサルテーションを開始した。後述するように、このガイドラインは社会的分裂を招くだけでなく、倫理的にも無教養といえる。」⁹⁾ ここでは、QALY そのものというより、QALY を用いて、国民が求めている薬を使用できなくするという判断をした NICE を強く批判している。

これに対して、医療経済学者の Claxton と Culyer は、「NICE の現行の費用対効果評価手順に対する我々の擁護に向けたハリスの回答には、さらに 2 つの誤りがある。第一に、彼は次のような事実から誤った結論を引き出している。NICE はいついかなるときも、医療資源のすべての可能な使用を評価するわけではなく、また評価することもできない。また、一般的に、どの NHS の活動が置き換えられるのか、あるいは、どの患者集団が、どのような健康上の利益を犠牲にしなければならないかを知ることができない。これは非論理的である。第二に、彼は、人同士を比較するために質調整生存年 (QALYs) をアウトカム指標として用いることは核心的な欠陥であると主張している。このような比較は確かに必要であるが、これは特定のアウトカムを選択した結果ではない。QALY であろうと何であろうと、である」と努めて冷静に反論している^{10)、12)}。

QALY を用いた医療資源配分に対するこうした擁護論は、米国のアカデミアのそれと同じであり、そのポイントは、QALY は患者を価値づけているのではなくて、当該の治療 (医薬品や医療機器) の価値を計っているだけであるということである。米国の下院議員も、英国の倫理学者も、QALY そのものを厳しく批判するが、それは、QALY の欠陥というよりは、制約のある資源を合理的に活用しようとする際に生じる不可避の事象であるにすぎない。医療経済学側からは、障害者の QOL によって治療法を比較しているのではなく、QOL の改善度 (QALY gain) を見ているのだから、ベースラインの QOL が低い障害者の方が、改善度は大きいという反論もある。このことは、QALY に対するもう一つの代表的な批判である「QALY trap (QALY の罠)」の議論に繋がってゆくことになる。

VII. QALY の罠 (QALY trap)

Ubel は、「人々の QOL を高める介入に価値を与えようとするれば、QOL の低い人々の命を救うことに価値を与えざるを得なくなる一方で、QOL の低い人々の命を救うことに平等な価値を与えようとするれば、QOL を高めることには価値を与えないことを余儀なくされる」現象のことを、「QALY trap (QALY の罠)」と呼んだ (図 1)¹³⁾。図 1 から分かるように、本来の QALY gain という観点からは、青い部分の A の面積の方が広く、QOL の低い、例えば障害者が優先されることになるが、障害への配慮を優先する余り、QOL に関係なくそこに平等な価値を与えるなら、図の下半分が示すように、QALY gain の大きさは意味をなさなくなるということである。



QALY増加(gain) という観点からはAの面積の方が大きい。Aの治療すなわちQOLの低い障害者の治療の方が優先される



障害者のQOLによらず、全て平等の価値を与えるなら、QALY増加が大きかろうが、全くなかろうが違いがなくなってしまう

図1. QALYの罠 (QALY trap)

VIII. QALYの罠への対応

このジレンマへの対策として、Tyler は、優先主義（最も恵まれない人の治療を最優先する）を導入することを試みている¹⁴⁾。優先主義については平等主義のひとつとして後述するが、この場合、①救命に平等な価値を認めない②合併症の率を減らすことには価値を与えない③優劣の推移性を否定する④同じ結果に対しても不均等な価値を認めるという優先主義的対応をとることで、トラップを回避できるとしている。彼の工夫は、①から④をうまく組み合わせて、温和（mild）な優先主義をとる点であり、極端なレキシミン（辞書のような原理的優先主義）はとらず、③の推移性も維持するところがポイントである。

ちなみに非常に単純化した効用の無差別曲線を引くと、功利主義は効用の総量が一定であることから、右下がりの直線になるが、優先主義だと、どちらか一方が優先されることから、Lのような形になる。Tylerが言うようにこれをマイルドにすると、見慣れた無差別曲線になる(図2)。ここでことさらに、控えめな優先主義と呼ばなくとも、理論上、極端な功利主義と極端な優先主義の間に程度の差はあれ、左下に凸の無差別曲線が存在すると考えてよい。



図2. 功利主義と優先主義

IX. 平等主義の種類と概説

医療資源の配分上、功利主義と平等主義が対立し、この両者の間のバランスを取ることが、各国の医療政策に求められているのは自明と言えるが、特に人の生命に直結する医療資源の配分には、他の資源の配分に増して、平等への配慮が要求される。「命は等しなみに大切である」という原則に抗うことは困難であり、本論の冒頭でも見てきたように、そこを突かれると、客観的データに基づく、科学的な医療資源配分すべてが否定されることになりかねない。

NICEのSocial Value Judgementという英国における医療経済評価の倫理的な原則を記した文書にも、「NICEは、『功利主義』にも『平等主義』にも立たない」と明言がされている¹⁵⁾。そうした中で、ともすればどちらかという、功利主義の科学的応用といってもよい経済学を基盤にした医療資源配分法の技術的な改良に力を注いできた医療経済学、費用対効果評価の分野でも、基本に立ち返って、現代の平等主義の大まかな分類と、その内容について一定程度の知識を有することは、無駄なこととは思われない。そこで以下に、代表的な平等主義の考え方を紹介し、ごく簡単な概説を加えたい。なおこの部分は、広瀬巖の「平等主義の哲学」にほぼ全面的に依拠して¹⁶⁾記していることをお断りしておく。

まずは、ロールズの説を概説し、その後、運の平等主義、目的論的平等主義、優先主義、十分主義について触れてみたい。

X. ロールズの格差原理

ロールズについては、シンガーがDouble jeopardy批判に対して、その「無知のベール」という思考実験を援用して、応戦したところで一度触れた。ここでロールズの「正義論」について、十分に解説することはできないが、医療資源配分に関係すると思われる部分をピッ

クアップして、概説したい。

ロールズの平等主義は一言で言うと「格差原理」ということになる。単純な絶対平等ではなく、社会的・経済的不平等を認める条件付きの平等原理ということになる。つまり、単なる平等ではなく、どういう格差なら社会が認めるかということ突き詰めた考え方である。

格差原理の具体的な内容としては、前述したように自分や他人の社会におけるポジションが分からない状態にする思考実験である「無知のベール」を用いると、多くの人は、最も不遇な人々の利益を最大化することを選ぶはずだというのが骨子となる。これを単純化して Maxmin(マキシミン)ルールと呼ぶことがあるが、最小のものを最大にという含意である。ただし、この Maxmin ルールを辞書の掲載された単語の順番のように、厳格に適用することを Leximin(レキシミン)ルールとやや批判を込めて呼ぶことがある。

まとめると、社会的・経済的不平等は、最も恵まれない人々の便益になる時にのみ正当化されうるものであり、社会的弱者の厚生が確保され、すべての構成員が機会平等である場合にのみ許容できるというのがロールズの格差原理ということになる。

XI. 格差原理の進化 (ポストロールズ主義の契約理論)

ロールズの正義論は、政治哲学に非常に大きな貢献をしたが、当時からその格差原理の基本となる正義の諸原理の正当化に困難さを覚えた人は少なくなかった。つまり、格差原理を引き出す過程で用いられる「無知のベール」はあくまでも、仮想的状態に置かれた一人の合理的個人の観点に過ぎず、その個人の判断、つまり「私が許容」という第一段階は導けるとしても、果たして「あなたも許容」という第二段階が導けるのかという点は相当怪しい。この第二段階を認めないのが、ポストロールズ主義者ということになる。

ネーゲルは、全員一致原理ということで、損失最大化を最小化せよというミニマックスルールにより第二段階を導くことを提唱している。最も境遇の悪いものに絶対的な優先性を与えるというのは、ロールズの考え方と大差がないように思われるかもしれないが、ロールズが集団(最低基準の社会的基本財を持つことになるグループ)を対象としているのに対して、ネーゲルは個人(最も大きな潜在損失を持つ個人)を対象としている点が大きく異なっている。

一方でスキャンロンは、この正当化可能性は無知のベールからは出てこないとし、提示する理由のみに依存していると主張している。これは、功利主義と正反対の考え方であり、一人の反対があってもダメという契約主義に基づいている。これは非集計的な原理であり、原理としては有効ではあるが、実際に全員が賛成する契約というものが存在しうるのか、はなはだ疑問である。

XII. 運の平等主義

ドゥーキン、生まれつきの能力や社会的地位の違いによる不平等(自然運)には対応する一方、ギャンブルのように自らの選択で招いた格差(選択運)には対応すべきでないとする考え方である運の平等主義を提唱した。

選択の帰結においてコントロールできない運の要素や影響を可能な限り取り除くことを

正義の要諦とするとするのが、この原理であり、リスクや偶然的な属性といった運の影響から人々を保護しようとする考え方である。別の言い方をすると、人々が有する選択肢集合の価値を不運の影響から保護することを目指すものである。

これは、為政者や一部の医療従事者に人気の考え方である。麻生元総理大臣はかつて、「自分で飲み倒して、運動も全然しないで、糖尿も全然無視している人の医療費を、健康に努力している俺が払うのはあほらしい、やっとなれん」と他人の発言を借りる形で、病気になった責任をその人の選択に帰するような発言をしている¹⁷⁾。医師の中にもこうした思いを持っている人は少なくないと思われる。

しかし、容易に想像できることであるが、この考え方を採用すると、自発的選択によって生存の危機に瀕するような帰結をまねこうとも、その不平等な結果には責任があることになってしまい、平等な医療を受けられないことを甘受せざるをえなくなる。運の平等論への批判はそうした扱いが「なぜ平等なのか」という、平等を基軸とする根拠について必ずしも明示してこなかった点に対して加えられている。

XIII. 目的論的平等主義と優先主義

平等主義に対する代表的な批判に、悪平等論がある。つまり、単なる平等が一番望ましいのなら、たとえ全ての人の暮らし向きが悪くなるとしても、それを求めるのかということになってしまう。これは普通に考えると受け入れがたい主張である。そうではなくて、平等とは帰結をより善くする一つの特徴とみなすことが重要であると考えてことを「目的論的平等主義」と呼ぶ。しかしそこにも、単純な悪平等論に通じる批判、すなわち水準低下批判がある。つまり、より境遇の善いある個人の福利が、より境遇の悪いある個人の水準まで、いかなる個人をも益することなしに低下することを良しとせざるを得ないということである。これに応えるのが優先主義といえよう。

パーフィットは、平等が達成されないとしても、最不偶者の利益を増進するように分配すべきであると主張している。かれは、優先主義を「人々の境遇が悪いほど、その人々に便益を与えることはよりいっそう重要である」と定義している。

「QALYの罠」への対応策として、温和な優先主義を採用するという Tyler の考えについて、上述した¹⁴⁾が、そのもとになった優先主義を目的論的平等主義と区別するものは、優先主義は絶対水準でより低い個人のことをより境遇が悪いとしているのに対して、目的論的平等主義では、他の人々よりも低水準にある個人を意味しているところにある。ではなぜ絶対水準の低い人を優先すべきかどうかという大きな理由は、福利の絶対水準が高くなるにつれて低減することにある。つまり一番低い所にこそ、その水準が一番高くなる余地があるということである。これは、Tyler もいうように、QALY gain と QOL の低い恵まれない人をつなぐ魅力的な考え方といえる¹⁴⁾。このように、QALY trap の解消に優先主義を採用することが理解できる。

XIV. 十分主義

しかし、絶対水準とはいっても、より悪い境遇と言うのは、比較の問題であり、どの人ま

でを優先するののかという問題に対して、優先主義は十分に答え切れていない。これに対する批判及び対応策として唱えられたのが、十分主義という考え方である。これは、境遇が悪い人、即ちその福利水準が一定の閾値を下回る人々を益することに優先権を付与するというタイプの平等主義である。フランクファートによれば、十分性水準を下回る人々の数を最小化することを目指すものである。

かつて、わが国の民主党が政権担当時に、功利主義のスローガンである「最大多数の最大幸福」ではなく、「最大多数の最小不幸」をキャッチフレーズにしていたが、これは十分主義を体現したものと言えるかもしれない。一方で、十分主義は、下限付きの功利主義とみなすことも可能であり、別の言い方をすれば、下限を伴ったうえで、平均を最大化するアプローチと言える。このことは、QALY を用いる医療資源配分と恵まれない人々への配慮を両立できる可能性を秘めていると思われる。

XV. 平等主義による QALY の修正

QALY が障害者差別に繋がるという倫理的な批判に対して、どう対応するかについて、2023 年の報告書では、evLYG や GRACE といった QALY の代替物の使用について論じた¹⁸⁾ が、今回の報告書では、QALY を修正することで、この批判に応じようというアプローチについては紹介したい。

カテゴリー	内容	例
疾患関連基準	このカテゴリーは、非功利主義（非帰結主義）に由来する特定のCEA仮説への挑戦である 重篤な健康状態、治療から便益を得る可能性が低い、便益の期間が短い、希少疾病に罹患しているなどの状況は、一般的な運がわるいことによると受け入れられてきた。 そのためこれらはしばしば道徳的には無関係であるとみなされ、その救済に特別な優先順位を与えるべき状況として扱われる それにもかかわらず、これらはCEAの優先順位に悪影響を及ぼす可能性がある これは不公平であるとみなされるかもしれない。	疾患の重篤度、治療から得られる便益の低さ、希少疾患
社会別の特性に関連する基準	疫学研究によると国内および各国間で健康アウトカムに近いパターンが示されている グループ間の格差を是正するために、優先順位を決めることが可能である グループは様々な方法で定義できる PROGRESS変数（居住地、宗教、職業、性別、人種/民族、教育、社会経済的地位、ソーシャルネットワーク/キャピタル）は有用な指標である	生涯を通じた健康の平等の規範に関連する明確なグループのメンバー間での平等
悪い健康状態の経済的社会的影響に対する保護に関連する基準	医療介入は重要な波及効果を有する可能性がある たとえば高額な医療費支出が原因で家計が貧困に陥ることを防止したり、個人が就労したり、関係者をケアする能力を保護できるようなる	経済生産性、破滅的医療支出、家族への影響
その他	CEAでは考慮されないそれ以外の規範的基準	健康に対する個人の責任、割引

表1. 費用効果分析結果と同時に考慮すべき追加的な規範的基準

少し古いがよくまとまっている Johri と Norheim の「費用効果分析は公平性への関心を取り込むことが可能か？」というシステムティックレビュー¹⁹⁾ に基づいて、この平等性による QALY の修正という問題については考えてみたい。なお、「Equity」の訳語としては、「衡平性」の方がより正確かもしれないが、以後は「公平性」で統一する。

システムティックレビューでは 59 文献を検討し、公平への関心についての基準を分類している（表 1）。①疾患に牽連する基準としては、重篤な疾患、治癒可能性、希少性等があげられている。②社会集団別の特性に関連する基準としては、PROGRESS という頭文字でくくられる指数（居住地、宗教、職業、性別、人種/民族、教育、社会経済的地位、ソーシ

ナルネットワーク/キャピタル)の有用性について言及がなされている。また③社会経済的な観点に関連する基準として、高額な医療費(カタストロフィーという言葉が使われている)による家計の破綻を防ぐという基準が挙げられている。

これらの基準をCEAに組み込むアプローチとして、①Equity Weights and Social Welfare Functions(公平加重と社会厚生関数)②Mathematical Programming(数学的プログラミング)③MCDA(Multi-Criteria Decision Approach:多基準意思決定アプローチ)の3に整理されていることから、以下それぞれのアプローチについて、眺めてゆきたい。

① 公平加重(Equity Weights)と社会厚生関数(Social Welfare Functions: SWF)

公平加重とは、健康便益の総量を犠牲にして、これらの便益のより公平な分配を促進するものである。上述した基準に該当する指標にウェイトを加えることで、功利主義的に見ると、重要な健康便益の総量が減るとしても、その分配をより公平にする手法である。ウェイトを加えるべき指標として、年齢、性別、当初の健康状態の重篤性、健康回復の限定性、潜在的な健康などが各論文で検討されている。

一方、功利主義と平等主義のトレードオフは社会厚生関数(social welfare function (SWF))として表すことができる。SWFは社会状態を順位付けする実数関数であるが、健康の「総量」への関心と社会集団間での不公平あるいは生涯の総健康量における不公平への忌避感を組み合わせることが可能である。

Wagstaffは、健康の全体的な不平等の程度に関する懸念を、健康結果に対する不平等への嫌悪感の度合いを示すパラメーターを含む等弾性社会厚生関数(SWF)を通じてQALYアプローチに組み込むことができると提案している。等弾性即ち弾性が等しいとは、 x の厚生のパーセンテージ変化と y の厚生のパーセンテージ変化の比率が一定であることを意味している。

貧困研究で有名なアトキンソンの所得不平等指数²⁰⁾の基礎にも、このWagstaffと同様のSWFがあると考えられる。このような、パラメトリックなSWFアプローチの魅力は、効率性と公平性の考慮を統合されたフレームで捉える能力にある。まさにSWFの形式を工夫することで、公平性への関心をCEAに取り組むことができるという考え方である。

Bleichrodtは、平均効用(またはQALY)に関する関心を組み込み、QALYの分配における事前および事後の公平性を考慮したSWFを提案している。これは二成分による多属性効用関数であり、第一の要素がQALYの総数で、第二の要素が事後の分配を反映した不平等の概要指数(テイルのエントロピー測度)である。次にこれに加えて、事前の公平性(健康利益の公正な機会)を反映する第三の要素を提案している。

この研究は、不平等の測定値 E を使用することで、平均健康と公平性を組み合わせているが、アトキンソン、センなどが論じたように、このようなSWFは一般的に $W = \text{平均}(1-E)$ と書くことができる。つまりこの場合、社会厚生は不平等の少なさということになる。

Dolanは、効率性と公平性を独立して考慮し、次にそれらを組み合わせることを可能にする健康関連のSWFクラス(コブ・ダグラスSWFを含む)を提案している。この健康関連

の SWF クラスは、原則として、健康における「純粋な」または単変量の不平等と、社会集団の変動に関連する二変量の健康不平等の両方を取り入れることができる。さまざまな解釈に基づいた「必要性（ニーズ）」の概念から導き出された前治療および後治療の健康状態に基づいて定義された公平性について関心を向けているが、(a) 利益を受ける能力としての必要性（後治療マイナス前治療の健康状態）(b) 前治療の健康状態としての必要性のみのどちらを採用するかという 2 パターンがある。

Lindholm は Wagstaff とよく似た SWF を導入しているが、不平等の定義について、Lindholm が社会経済的な集団間の健康の不平等であるとしているのに対して、Wagstaff は、健康の全体的な不平等の程度であるとしている点が異なっている。

いずれにせよ、 $W = \text{average}(1-E)$ という形に集約できる SWF は、各種の不平等を取り入れるのに十分な柔軟性を持っているというのがレビューでのまとめである。なお不平等の測定値 E については、全体的な不平等に対する場合は、単変量のジニ係数、不平等の社会集団間の測定には二変量の集中指数（ここには、アトキンソン指数や一般化エントロピー測度が含まれる）が使用できるとされている。

一方、このような SWF を用いた手法には、問題点もある。こうした SWF 研究は、厚生経済学や倫理学・政治哲学の公正な分配の理論から強い影響をうけているが、これらの理論は、整合的で洗練された規範的枠組みを提供することができる一方で、高いレベルで一般化されているために、具体的な健康政策の問題への適用は困難であるという難点を有している。つまり、理屈はそうだが、具体的な政策に落とし込むというレベルではあまり役に立たないことになる。例えば、ウェイトやパラメーター値、あるいは、関数形式に関するコンセンサスは存在せず、あるのは学説のみということになる。このレビューで見てきたこれまでの研究はコンセンサスを支える価値を確立するための強力な理論的根拠を提供するまでには至っていない。ゆえに、こうした SWF による分析には、感度分析のような、探索的な使用法が有望であると考えられている。

② 数学的プログラミング (Mathematical Programming)

異なる公平の概念は、数学的プログラミング (MP) を使用した制約付き最大化のフレームで表現できるが、この場合、公平は機会費用として表現される。MP により、標準的な CEA アプローチの拡張が可能となる。CEA は健康の総量の最大化を目指しているが、その標準的な意思決定ルールは、①一定の規模の利益②独立した治療オプション③完全な可分性という強い仮定に依存しているが、これでは、CEA は健康資源配分問題を現実的に表現できず、意思決定の際の真の機会費用を捉えることができない可能性がある。真の機会費用によって閾値を誘導しようという試みはヨーク大学のグループが取り組んできた²¹⁾が、この形での閾値 (£12,936/QALY)こそが真の閾値であるという考え方も根強いものがある。

Stinnett と Paltiel は、制約された仮定の緩和と無視されがちな分配への関心を考慮することを可能にする資源配分の、より一般的なアプローチとして、数学的プログラミング (MP) を紹介している。CEA に基づく医療資源配分がこれと同等の線形プログラミング問題とし

て表現できることを示している。筆者は数学的なことをうまく解説する能力はないが、同レビューによると、連続(線形)変数と整数変数の使用を許可する混合整数プログラミングが、適切な予算、実用的な、倫理的な制約を導入することによって、標準のCEAよりも、より複雑なシナリオの考慮を可能にすることを示しているとのことである。

MPを用いた方法の問題点として、いくつかの研究は、特定の公平性を主張する理由を問わず、すべての利害関係者にパイの一切れを与えることによって公平性に対処しようとしているという皮肉な見方がある。MPは高度な数学的手法を用いて計算することで、平等主義的な配慮が行われていますというエクスキューズにしか役立っていないという厳しい批判である。

また、MPの論文のほとんどは公平性に関する理論的文献と明確に関連づけられておらず、これまでの主な焦点は、CEAにおける公平性への関心に対処するために使用できる技術的手法を探求し、発展させることであった。当然のことながら、モデリングと手法における強みがある一方で、明確な規範的基盤が欠如していることで、その有用性は大幅に制限されている。

③ MCDA(Multi-Criteria Decision Approach:多基準意思決定アプローチ)

MCDAの具体的な内容はここに詳述しないが、一言で言えばそれは、公平性を一つの次元に還元できない可能性のあるものとして捉えるものである。特に発展途上国の政策立案者が複数の目標を満たしながら健康資源を分配するのを支援する実用的なアプローチとして位置付けている。健康の公平性は、介入が貧困層や特定の民族、または重病の人々や子どもたちなどの脆弱な集団にどの程度届き、恩恵をもたらすかということに関わる複数の公平性に関連した基準が重要であるとともに、効率性と予算、実務的な制約を反映する基準も重要である。

近年は、このMCDAをHTA上の意思決定に用いようとする動きもあるが、MCDAは経験的かつ文脈に依存したアプローチであり、基準の選択は、少数の個人の判断に基づいているため、恣意的であるとの誹りは免れない。これまで選択された基準は、より広い正義の理論との明確な理論的関係の欠如を反映して、重複的な用語で定義されることがあった。つまり項目の重複性の問題がつきまとっている。また計量経済学的解析の結果の安定性も問題であり、得られたランキングが回答者グループの構成にどの程度敏感であるかは不明である。因子分析ではすべての主効果を推定できるが、相互作用は推定できない。これまでに発表された実験の設計は直交しており、属性間に相関関係はないとされているが、今後は、属性間の依存関係をモデル化し、選択確率が属性レベルに依存する状況を考慮して、非直交設計が考慮される可能性はある。

また、集約プロセスに伴う情報損失は、最終的なランキングの透明性の欠如を招く可能性がある。おそらく最も重要なのは、最終的なランキングを構築するために使用される関数が、経験的かつ統計的にばらつく結果を生じることである。最もよく知られている科学的証拠と不確かな有効性に関する意見を同等に組み合わせていることの当然の帰結ともいえるが、

今後は、MCDA への熟慮的アプローチの導入や質的次元を統合する方法も探求する必要がある。

④ まとめ（CEA への公平性要素の組み込み）

価値の多元主義は民主的社会の普遍的な特徴であり、規範的選択の根拠となる広く社会に受け入れられた規範的なソースは存在していない。CEA によるランキングは、資源配分選択のために非常に重要かつ有用な情報を提供する一方で、平等の多くの次元や、実行可能性や利用可能性などの他の目標に関連する多くの追加基準も HTA の決定において重要な関連性を有している。

特定の状況下で最良の全体的な決定を促すために、HTA 機関が、この研究でレビューされたような平等性の明示的な考慮のための技術を使用することは推奨される。それは、説明責任、透明性、一貫性、科学的証拠の適切な使用を通じて保証される手続きの公正性を強調する熟議プロセスの一部として行われるべきである。こうした方法で、提供される情報は評価しなければならないが、平等の考慮に対して辞書のような優先順位（レキシミン）を提供するためにこうした定量的技術を使用することは避けるべきである。これらの技術は、公正な意思決定プロセスの一部として開かれた方法で使用されるときに最も効果的であると考えられるべきである。この点は前述した英国 NICE の社会的価値判断報告書に、NICE は、功利主義にも、平等主義にも立たず、手続き的正義（A4R）を重視すると宣言している¹⁵⁾ ことと通底しているとも言える。

XVI. その後の展開と各 HTA 機関での実用化

障害者が差別されないよう配慮しつつ、各治療法の QALY 改善に着目する医療資源配分法については、これまで特にヨーロッパ諸国で検討されてきた¹⁹⁾ が、近年、QALY shortfall(不足)に着目して、失った QALY 増加を、例えば疾病の重篤性の指標とみなし、通常の CEA の結果得られた ICER に対して、閾値を緩めるか、ICER に重みをつけることで、上記のような課題に対応しようという試みが一部の国でなされている。この点については、2021 年度の本研究班の報告書で、池田俊也班員が、詳細な報告をしているので、そちらを参照頂きたい。ここでは、そうした Shortfall が、ここまで見てきたような公平性への配慮、特に障害者や高齢者が不利に扱われないという規範的・倫理的基盤とどのように結びつけられているのかについて、検討を行いたい。

I. ノルウェー

Ottersena らによれば、ノルウェーの健康部門における優先設定に関する第三委員会が新しい包括的な優先設定の枠組を示した²³⁾ が、優先設定は「すべての人に公平に分配された最大の健康寿命の年数」を目指すべきであるとし、1) 健康利益基準：介入の優先順位は、その介入から期待される健康利益（が増えるにつれて高くなる。2) 資源基準：介入の優先順位は、必要な資源が少ないほど高くなる。3) 健康損失基準：介入の優先順位は、その介入がなかった場合の受益者の予想される生涯健康損失が増えるほど高くなる。の 3 つの明確な基準を設けている¹⁹⁾。

池田報告書にもあるように、ノルウェーは結論として、Absolute Shortfall(AS:絶対的 QALY 不足:以下 AS と略記)のみを閾値緩和のための修飾因子として採用している。英国では、Proportional Shortfall(PS:比例 QALY 不足:以下 PS と略記、Ottersen 論文では relative shortfall (相対的 QALY 不足) と表記)も採用する議論がなされているが、ノルウェーの委員会は、この PS の使用が不当であると判断している。その理由として PS には、生涯の視点が欠けており、将来の損失の大きさに対する感度が不十分であることが挙げられている。分かりやすく言えば、40 年の健康寿命のうち 20 年を失うことは、2 年の健康寿命のうち 1 年を失うことより深刻であるということである。

また同委員会は、終末期医療、年齢、代替治療の欠如、技術革新、希少疾患に関する基準を検討するよう求められたが、これらの特性は、利益、資源使用、健康喪失の指標となる程度にしか関連性がないとして、公平性の基準としては採用していない。つまり AS 以外の基準、特に年齢は、独立した基準として優先順位設定の枠組みに含めるべきでないと勧告している。

健康損失分類	費用対効果閾値 (ノルウェークローネ/QALY表示)
1	< 250-500
2	< 500-750
3	< 750-1000

表2. 費用対効果閾値のための階段モデルと具体的な閾値 (ノルウェー)

次に、この AS をバランスよく、医療政策の意思決定に使用するための単純なルール、「1-2-3 ルール」を提案している。このルールによれば、重みづけは健康損失に応じて徐々に増加する。具体的には、健康喪失クラス 1、2、3 において、健康喪失が最も小さいものに割り当てられる重みは、それぞれ 1、2、3 である。クラス 3 より大きい損失に対する重みは規定していない。さらにそれぞれのクラスにおいて、閾値を緩和することで、この重みを反映させている。

平等主義を定量的に CEA に組み込むにあたり、ノルウェーは定量可能性ということで AS を採用し、後述するようオランダや英国のように、PS は採用していない。その医療資源配分上のポリシーとして、①生涯の観点を重視すること、②将来の損失の規模に対する感度を高めること、を採用している点がユニークであると思われる。

II. オランダ

オランダは、1991 年に Dunning 委員会が発表した「Choices in health care(医療における選択)」という報告書で、オランダにおける医療の優先順位設定に関する 4 つの基準が定められている²⁴⁾。それは、必要性、ケアの有効性と効率性、そして患者のケア (の支払い) に対する個々の責任である。この後 2001 年に、Stolks らは「必要性」を「病気の負担 (BOI: Burden of Illness)」として定義し、PS をその定量的指標として導入することを提唱した²⁵⁾。以後、公平性と効率性のトレードオフをできるだけ明示的な形で、QALY による CEA に組み込む

ための試みがなされてきた²⁶⁾。

オランダでの議論でユニークなところは、公平性の問題を考える上で、重要と考えられる倫理原則を、フェアインギング (FI (Fair Inning)) 論と、疾病重篤度 (SOI (Severity of Illness)) 優先の二つに絞り、それを数値化できる PS を重視し、具体的な政策上の意思決定に応用しようとする強い意欲を感じる場所である。そこでは、FI は生涯にわたる健康を、SOI は現在と将来の健康を大切にしていることから、その両方を評価できる PS が優れているというロジックを用いている。フェアインギングというのは、人生の十分な期間を満喫できることを重視する考え方であり、多くの場合は若年者が高齢者より優先されることになる。

また一方で、こうした価値観に基づいて医療資源を配分することについて、実際に自国民に調査を行い、実証的なデータを得たうえで政策に組み込もうとしてきたプロセスも、見習うべき点と思われる。先述した Stolks は PS の観点への支持が多いこともこうした調査で確認している²⁵⁾ が、その後ノルウェー²⁷⁾、英国²⁸⁾、さらにはオランダ²⁹⁾ で行われた同様の調査では、そうした傾向はみられていない。2015 年以降に行われた調査では、軽度の支持があったとのことである³⁰⁾。

さらには、オランダの ACP (いわゆるアプレイザル委員会) において、Dunning 委員会の基準や AS や PS への言及がどれくらいあったかについても、検討がなされているが、ここでは QALY 不足が取り上げられたことは論文時点 (2016 年) でそれほど多くなかった。

その後のオランダにおける PS を応用した医療資源配分法は概ねこの論文の通りに導入されているが、その具体的な内容や手法については、同じく池田報告書に譲りたい。

III. 英国

英国は長らく、どちらかと言えば、「A QALY is a QALY」の原則を堅持してきており、閾値を緩めるのは、EOL (End of Life) 特例 (がん等で予後が限られている患者に対する閾値緩和措置) のみであったが、徐々にオランダでの、QALY shortfall 論の影響を受けるようになる。ついには、NICE は 2014 年に、Value Based Pricing (VBP: 価値に基づく価格設定) の導入を検討する中で、疾患の「burden of illness (疾病負荷)」と「wider societal impact (より広範な社会的影響)」をより明示的かつ体系的に評価する方法を模索する中で、QALY shortfall の概念を、それぞれの代理指標として提案するに至った。

AS は、個人の社会への貢献能力の損失、つまり Wider Societal Impact の代理指標として考えられた一方で、PS は、疾患の burden of illness (疾病負荷) の代理指標とされた。これは VBP という CEA 結果に基づいて薬価を決めるという新たな制度の中で提案されたもので、パブリックオピニオンを受け付けた結果、反対も多く、VBP とともにこうした QALY shortfall を公平性の代理指標にしようという試みも一旦消え去ることになった。特に QALY shortfall の導入により、年齢による差別が生じる可能性などの懸念、つまり高齢者差別に繋がるという批判は強かったことは記憶しておくべきと考えられる。これは、高齢者は一般的に期待余命が短いため、AS が小さくなる傾向があり、結果としてそれが差別に繋がりがねないというこれまでも繰り返し登場した意見である。

ところが再度 2022 年になって、この手法は、重症度補正（Severity Modifier）の導入に形を変えて復活することとなった。前回評判の悪かったことを踏まえて、QALY shortfall を公平性の重要要素の代理指標と単純に捉えるのではなく、今回は QALY を疾患の重症度で修飾するために、その修飾の程度を導出する明示的な方法として、リニューアルしたことになる。つまり、オランダのように AS と PS それぞれが、どういう倫理的観点を反映した指標であるといったことはあまり強調せず、その両方を考慮し、これらどちらかの値が高い場合には、QALY の価値に重み付けを行い、事実上の費用対効果の閾値を引き上げる仕組みとしたことが今回の英国のやり方といえる。AS、PS のどちらか一方の基準に該当すれば、その量から導いた補正因子の係数にもとづいて、ICER を修飾するというところに英国の工夫が見られる。

こちらの方も、その具体的な基準や、補正のし方については、池田報告書を参考にされたいい。

次のまとめの部分でも触れるが、英国のように CEA で算出された ICER が閾値と乖離している場合は、閾値に近い妥当な薬価になるまで価格を下げさせるという強力な薬価交渉ツールとして、QALY に基づく CEA が使用されている国では、公平性に配慮した重症度による修飾を行った上で、そうした交渉をしているという形が何より重要であると思われる。

英国では、アプレイザル（総合的評価）に際し、基本的な CEA の結果を基に、そこに色々な公平性の要素をもちこんで、定性的な情報をもとに議論する前に、既に明示的なルールにより公平性に配慮を行っているという前提で議論を行うという方向性を選択したとまとめられよう。

XVII. まとめと我が国への示唆

QALY を使用した医療経済評価は、障害者や高齢者の差別に繋がることから、そうした方法は一切禁止すべしという米国での昨今の立法事情から説き起こし、そこに含まれる不偏的な倫理的な批判について、解説を加えてきた。昨年度の報告書では、QALY の使用禁止を想定して、evLYG や GRACE といった QALY の代替物について検討を行ったのに対し、本年度の報告書では、もう一度、QALY 批判の基盤をなす倫理的課題に立ち戻って、一定程度詳しく検討してきた。その中で、QALY trap という、障害者のようにスタート時点の QOL が低い場合は、むしろ QALY の大きな改善が望めるが、障害者に配慮してそこを平等にしてしまうと、QALY 増加という CEA の根幹をなす評価が成立しなくなるというトラップ（罠）という代表的な QALY 批判の論法を梃に、その解決策として穏やかな優先主義について説明を行った。

それをスタートとして、優先主義以外の代表的な平等主義である格差原理、運の平等主義、目的論的平等主義、十分主義についても、検討した。続いて、平等主義による QALY の修正、つまり CEA に公平性への関心をいかに取り込むかという点について、システムティックレビューの結果から、①Equity Weights and Social Welfare Functions（公平加重と社会厚生関数）②Mathematical Programming（数学的プログラミング）③MCDA(Multi-Criteria

Decision Approach：多基準意思決定アプローチの3つのアプローチに分けて検討した。最後に、公平加重の具体的な方法として、QALY shortfall を用いた閾値の緩和や ICER の加重について、ノルウェー、オランダ、英国の取り組みを紹介した。この部分は昨年度の池田報告書と重なるが、同報告書がQALY shortfall の考え方の基本と、各国の具体的な取り組みについて紹介しているのに対して、本報告書では、倫理的観点に立ち、QALY shortfall がどういった公平性の要素を反映しているものとして、それぞれの国で採用されているか、また、そこに至る経緯について解説を行っている。よって具体的な閾値の緩和法や ICER の加重法については詳しく説明していない。

以上を踏まえて、わが国への示唆という視点から、以下に提言を行いたい。

まず、米国で生じているような QALY の使用に代表される医療経済評価やそれに基づく医療資源配分に対する原理主義的な批判については、丁寧に説明をすることで理解を深めてもらおうという地道な作業が欠かせないと思われる。そこで繰り出される平等主義的な言説には直観に訴える普遍的な価値観が反映されており、ややプリミティブともいえる政治家の主張に対しても、その論理の矛盾や整合性のなさを指摘して、説得するのではなく、政治家に代表される多くの人たちが、何が気になって、どういうことに価値を置いているのかということをよく理解しなければならない。もちろん明らかな誤りは正すべきと思われるが、学問的立場からこちらの考え方の正統性をいくら主張しても、相手は反発するだけだと思われる。そうした中で、オランダや英国で行われているような、医療資源配分の原則に関わる国民調査を行うことも有効かもしれない。資源配分の問題は苦い課題であり、正面から向き合いたくないと思う国民は少なくないが、やはり避けては通れない問題であることを前提に、国民がどういう価値観を大切にしているのかをお互いに知るの大切なことと思われる。

次に、それを公平性の観点から QALY の修正に用いるということについては、欧州の先行例もあることから、わが国のアカデミアの中でも検討を進めるべきと考えられる。さらには、費用対効果評価制度の中にこうしたものを取り込むべきかどうかについての議論も必要となって来るとと思われる。たとえば、英国に準じた形で AS・PS を算出し、それに応じた ICER 補正を行った数値を参考値として、費用対効果評価専門組織に提出して、そこでの議論の一助とするといった使用法は考えられるかもしれない。ただし、QALY shortfall が公平性の重要要素を網羅しているわけでもなければ、加重の数値の根拠がそれほどしっかりしているとも言えず、出てきた数値が独り歩きすることのないように注意する必要がある。

またここではっきりしておきたいが、筆者は、こうした QALY shortfall による修正を全面的に是とすることには組みしない。本報告書の最初の部分で、QALY 禁止法に反対する米国アカデミアの意見表明を紹介したが、初期の健康状態や年齢に依存しないところが QALY を用いた医療資源配分における平等性の根源であるという主張はやはり、非常に重要なものであり、「A QALY is a QALY is a QALY」という原則を安易に捨て去ることがあってはならないと考えている。実際に英国でも AS や PS にもとづいたこうした QALY の修正

について根強い反対がある³¹⁾。

また、英国の制度を紹介するところで少し触れたが、閾値に遠く及ばない ICER を示す医薬品は、償還しないという強い態度で、厳しい薬価交渉に臨み、薬価が、ICER が妥当な範囲に収まるように製造販売業者に大幅な値引きを迫るという形で、QALY を用いた CEA を使用している英国と、わが国の現状の制度を同一視することはできない。わが国では、国民皆保険制度を堅持するという揺るがない方針の中で、費用対効果評価は、あくまでも薬価の調整に用い、償還の可否判断には用いないというのが大原則である。そうであれば、これまで見てきたような QALY に対する厳しい批判や、それに対処するための平等性の明示的な取り込みといった政策の切実さは、彼の国の問題であって、わが国は該当しないと考えることもできる。

ただ一方、わが国の費用対効果評価制度は、薬価制度の補完であるという見方が有力な中で、ほぼ薬価算定の際の加算部分のみと言ってよい薬価の一部を、ICER に応じて調整するという現行の取り扱いを、いわゆる薬価そのものの費用対効果の評価に拡大すべきではないかという意見も見られるようになってきた。一部の医薬品では、加算部分を超えて閾値を参考にしながら薬価を調整するという方法も、例外的に中医協によってとり入れられたことも考慮すれば、場合によっては、英国とまではいかないまでも、それに近い運用の可能性もないとは言えない。もしそうした事態になれば、わが国においても、ここまで見てきたような、原理原則に基づく厳しい批判が生じたり、QALY を用いない評価方法の検討や、あるいは、公平原則による QALY の明示的な修正が求められたりすることも予想される。そうした事態に備えて、学問的検討を続けることはそれなりに重要であると考えられる。

引用文献

- 1) H.R.5378 - Lower Costs, More Transparency Act. <https://www.congress.gov/bill/118th-congress/house-bill/5378> 2025 年 2 月 19 日最終アクセス
- 2) H. R. 5378 <https://www.congress.gov/bill/118th-congress/house-bill/5378/text> 2025 年 2 月 19 日最終アクセス
- 3) Robert M. Kaplan Peter J. Neumann Joshua A. Salomon Marthe R. Gold: House QALY Ban Could Harm, Not Help, People With Disabilities And Chronic Illness. Health Affairs Forefront 10.1377/forefront.20240502.443243 2025 年 2 月 19 日最終アクセス
- 4) Statement of Administration Policy: H.R. 485 - Protecting Health Care for All Patients Act of 2023. <https://www.presidency.ucsb.edu/documents/statement-administration-policy-hr-485-protecting-health-care-for-all-patients-act-2023> 2025 年 2 月 19 日最終アクセス
- 5) Public Law 111 - 148 - Patient Protection and Affordable Care Act. <https://www.govinfo.gov/app/details/PLAW-111publ148/PLAW-111publ148> 2025 年

2月19日最終アクセス

- 6) Palin vs. Obama: Death Panels. <https://www.factcheck.org/2009/08/palin-vs-obama-death-panels/> 2025年2月19日最終アクセス
- 7) Harris J. QALYfying the value of life, *Journal of medical ethics*, 1987, 13, 117-123
- 8) Singer P, McKie J, Kuhse H, Richardson J. Double jeopardy and the use of QALYs in health care allocation. *Journal of medical ethics* 1995; 21: 144-150
- 9) Harris J It's not NICE to discriminate. *J Med Ethics* 2005, 31:373-375
- 10) K Claxton, A J Culyer. Wickedness or folly? The ethics of NICE's decisions. *J Med Ethics*. 2006 , 32:373-377
- 11) Harris J. NICE is not cost effective. *J Med Ethics*. 2006;32:378-380
- 12) Karl Claxton, Anthony J Culyer. Rights, responsibilities and NICE: a rejoinder to Harris. *J Med Ethics*. 2007;33:462-464
- 13) Ubel, Peter A. ,Nord, Erik, Gold, Marthe, et al: Value Measurement in Cost-Effectiveness Analysis. *Medical Care* 38(9).(2000)892-901
- 14) Tyler MJ, Millum J, Wasserman D: How to Allocate Scarce Health Resources Discriminating Against People with Disabilities. *Economics and Philosophy* (2017) 1-26.
- 15) 齋藤信也, 他 (翻訳): 英国国立保健医療研究所 (NICE) における社会的価値判断—NICE ガイダンス作成のための諸原則 (第二版). *保健医療科学* 62: 667—678, (2013).
- 16) 広瀬巖: 平等主義の哲学 2016年 勁草書房 (東京)
- 17) 2008年11月28日(金)「しんぶん赤旗」
- 18) 齋藤信也: QALY (Quality-Adjusted Life Year: 質調整生存年) に代わるもの. 令和5 (2023) 年度厚生労働行政推進調査事業費補助金 (政策科学総合研究事業) 医薬品・医療機器等の費用対効果評価における 分析ガイドラインの改定に資する研究 (2024) 420-428.
- 19) Mira Johri, OleFrithj: Can Cost-Effectiveness Analysis Integrate Concerns For Equity? Systematic Review. *Journal of Technology Assessment in Health Care*, 28:2 (2012), 125-132.
- 20) Atkinson, AB: On the measurement of inequality. *Journal of Economic Theory*, 2 (3) (1970), 244-263.
- 21) Karl Claxton, Steve Martin, Marta Soares et al: Methods for the estimation of the National Institute for Health and Care Excellence cost-effectiveness threshold. *Health Technol Assess* (2015) Feb;19:1-503,doi: 10.3310/hta19140.
- 22) 池田俊也: 諸外国における費用対効果の閾値設定の動向. 2021年度厚生労働行政推進調査事業費補助金 (政策科学総合研究事業) 医薬品・医療機器等の費用対効果評価における公的分析と公的意思決定方法に関する研究 (2022) 13-23.

- 23) Trygve Ottersena, Reidun Førdeb, Meetal Kakad et al: A new proposal for priority setting in Norway: Open and fair. Health Policy 120 (2016) 246–251
- 24) Commissie Keuzen in de zorg (Dunning A.J. et al.). Kiezen en delen. Den Haag: Ministerie Welzijn, Volksgezondheid en Cultuur; 1991.
- 25) E.A. Stolk, S.J. Pickee, A.H.J.A. Ament, J.J.V. Van Busschbach: Equity in health care prioritisation: an empirical inquiry into social value. Health Policy, 74 (3) (2005), 343-355
- 26) Reckers-Drooga, N.J.A. van Exela,b, W.B.F. Brouwer: Looking back and moving forward: On the application of proportional shortfall in healthcare priority setting in the Netherlands V.T. Health Policy 120 (2016) 246–251
- 27) J.A. Olsen: Priority preferences: end of life does not matter, but total life does. Value Health, 16 (6) (2013), 1063-1066
- 28) J. Brazier, D. Rowen, C. Mukuria, S. Whyte, A. Keetharuth, A. Rise, et al: Eliciting societal preferences for burden of illness, therapeutic improvement and end of life for value based pricing: a report of the main survey(2013): <http://eprints.whiterose.ac.uk/99493/1/Eliciting%20societal%20preferences%20-%20011.pdf> 2025 年 4 月 17 日最終アクセス
- 29) E.J. Van de Wetering, N.J.A. Van Exel, A. Bobinac, W.B.F. Brouwer: Valuing QALYs in relation to equity considerations using a discrete choice experiment. Pharmacoeconomics, 33 (12) (2015), 1289-1300
- 30) D. Rowen, J. Brazier, C. Mukuria, A. Keetharuth, A. Risa Hole, A. Tsuchiya, et al: Eliciting societal preferences for weighting QALYs for burden of illness and end of life. Medical Decision Making, 36 (2) (2016), 210-222
- 31) Daniel M. Hausman: Problems with NICE’s severity weights. Social Science & Medicine 348, (2024) , 116833 <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2024.116833> 2025 年 4 月 17 日最終アクセス

E. 結論

QALY が障害者差別につながるという言説について検討を加えたが、そこには直観に訴える倫理的基盤が認められた。これは基本的に功利主義に立脚している QALY を用いた費用対効果評価に対する平等主義からの批判と捉えることができるが、平等主義的な要素を QALY に取り込む QALY shortfall の考え方がそれへの一つの対処法と考えられた。

F. 健康危険情報

特になし

G. 研究発表

齋藤信也：がん治療薬の医療経済評価 .日本癌治療学会学術集会抄録集 62 回 PSP7-3
(2024 年 10 月)

H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

1. 特許取得

特になし

2. 実用新案登録

特になし

3.その他

特になし

令和6年度厚生労働政策科学総合研究事業分担研究報告書
公的介護費用に影響を与える社会経済要因の考察

分担研究者： 田倉 智之（東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学）

研究要旨

認知症関連の治療薬品の上市が続いており、我が国においても介護要因と薬剤経済に関わる議論が注目を集めている。特に、関連する領域特性を背景に、慢性疾患への処方における要介護度や社会経済の影響のメカニズムに対する探究、費用対効果評価への応用の要件などの検討が希求されている。以上を踏まえて本研究は、介護水準と薬剤選択の動向について、大規模データを応用した縦断的研究のデザインで予備的な検討を試みた。本研究は、医療ビッグデータ（TheBD）を応用した、後ろ向き、多施設、長期縦断の研究デザインで実施した。本研究のコホートは、循環器関連の診断がなされて、保険診療による入院歴のある集団とした。分析期間は約4年間、サンプルは約5万人であった。それに対して、臨床経済的な観点から、薬剤選択と要介護度の進展との関係を整理した。要介護度、臨床指標、処方選択と加齢との関係を整理した結果、要介護度のみならず、LDL-Cの変位と後発薬率の水準は加齢とともに統計学的有意に上昇をしていた。要介護度の変位と後発薬の選択率の関係を整理したところ、要介護度が上昇した群の後発医薬品処方率は $51.0 \pm 20.0\%$ であった。要介護度が低下した群の後発医薬品使用率は $48.3 \pm 18.6\%$ であった（ $p < 0.05$ ）。本研究の結果、要介護度の進展に伴い、後発薬の選択率は有意に上昇することが明らかとなった。以上から、介護ニーズ（介護施設などの入所含む）の増加群は、新薬の処方選択において、一定の制約（影響）があると示唆された。費用対効果評価の観点から考察を加えるならば、本研究の知見から、次の二つの示唆が得られる。一つ目は、新薬の普及や長期分析（生涯分析）の取扱いにおいて、介護領域は一定の制約が存在する可能性があり、治験などのデータの応用に留意が必要である。二つ目は、社会資源の消費（医療費用や介護費用）の積算において、相互の領域間でトレードオフが生じる可能性も想定され、モデルの設定などにおいて留意をする必要がある。今後は、介護が必要となる背景や、その進行メカニズムについて、さらに長期的な視点も含めて慎重に議論する必要がある。

A. 研究目的

最近、アルツハイマー病による軽度認知障害及び軽度の認知症の進行抑制のためのレカネマブを始めとして、認知症関連の治療薬品の上市が続いており、我が国においても介護要因と薬剤経済に関わる議論が注目を集めている。特に、関連する領域特性を背景に、慢性疾患への処方における要介護度や社会経済の影響のメカニズムに対する探究、および費用対効果評価への応用において要件などの検討が希求されている。

以上を踏まえ、本研究は、介護水準と薬剤選択の動向について、大規模データを応用した縦断的研究のデザインで予備的な検討を試みた。具体的には、

患者重症度や後発薬選択などの因子が、医療分野と異なるのかどうか検証を行った。得られた知見は、介護領域を包含した医療経済評価の展開において、限定的ではあるものの、基礎的な示唆を提供することが期待される。

B. 研究方法

本研究は、医療ビッグデータを応用した、後ろ向き、多施設、長期縦断の研究デザインで実施した。本研究で用いたデータ（TheBD）は、東京大学医学部附属病院の倫理委員会で包括承認がなされた（審査番号：2018167NI, 2019年3月26日、図1）。該当データベースから抽出されるコホートは、日本全国を網羅していた。本研究は、循環器関連の診断

がなされて、保険診療による入院歴のある集団とした。分析期間は約4年間（2010年代）、サンプルは約5万人であった。

本研究は、まず介護分野に特有の加齢現象に着目して、要介護度、臨床指標（リスク因子の大きな比率を占める脂質など）、処方選択（先発医薬品／後発医薬品）と加齢との関係を重回帰分析で確認した。その結果を踏まえて、次に臨床経済的な観点から、薬剤選択と要介護度の進展水準との関係を整理した。統計学的な基準は、有意水準を5%とした。統計解析ソフトは、SPSSを利用した。

C. 研究結果

要介護度、臨床指標、処方選択と加齢との関係を整理した結果、要介護度のみならず、LDL-Cと後発薬率の水準は加齢とともに統計学的有意に上昇をしていた（表1）。ただし、他の臨床指標の変位と加齢の関係については、濃淡があり、一部の臨床像の増悪の傾向とは必ずしも一致していなかった。

続いて、要介護度の変位と後発薬の選択率の関係を整理したところ、要介護度が上昇した群の後発医薬品処方率は51.0±20.0%であった。要介護度が低下した群の後発医薬品使用率は48.3±18.6%であった（ $p<0.05$ 、図2）。なお、要介護度が不変の群の後発医薬品処方率は50.3±18.9%であった。

D. 考察

本研究の結果、要介護度の進展に伴い、後発薬の選択率は有意に上昇することが明らかとなった。以上から、介護ニーズ（介護施設などの入所含む）の増加群は、新薬の処方選択において、一定の制約（影響）があると示唆された。将来的に、要介護度との関わりの大きい処方選択の医療経済評価において、介護ニーズと患者背景、ケア・治療などの関係（メカニズム）のさらなる探求を行うことの意義は、高いと推察された。

上記の理由を医療経済学的に考察すると、以下の2つの仮説が考えられる。第一に、医療保険と比較して、介護保険は自己負担や保険外サービスの割合が高く、被保険者の経済的抑制となっている。これは、退職後の収入減少も影響している可能性がある。第二に、介護施設の経営や体制を考えると、公定価格が低く、取り扱いが容易なジェネリック医薬品が好まれる傾向がある。これは、薬剤師の不在や保険制度の特性によるものと考えられる。

費用対効果評価の観点から考察を加えるならば、本研究の知見から、次の二つの示唆がさらに得られる。一つ目は、新薬の普及や長期分析（生涯分析）の取扱いにおいて、介護領域は一定の制約が存在する可能性があり、治験などのデータの応用に留意が必要である。二つ目は、社会資源の消費（医療費用や介護費用）の積算において、相互の領域間でトレ

ードオフが生じる可能性も想定され、モデルの設定などにおいて留意をする必要がある。

本研究の予備的な分析によると、年齢、要介護度、処方選択の間には複雑な関係が見られたが、要介護度の変化と臨床指標とは、関連が認められない傾向も読み取れた。これは、我が国の介護度評価が日常生活能力に重きを置いていることに起因していると考えられる。今後は、介護が必要となる背景や、その進行メカニズムについて、さらに長期的な視点も含めて慎重に議論する必要がある。

E. 結論

本研究の結果、要介護度の進展に伴い、後発薬の選択率は有意に上昇することが明らかとなった。以上から、介護ニーズ（介護施設等の入所含む）の増加群は、新薬の処方選択において、一定の制約（影響）があると示唆された。

費用対効果評価の観点からは、新薬の普及や長期分析（生涯分析）の取扱いにおいて、介護領域は一定の制約が存在する可能性があり、治験などのデータの応用に留意が必要である。さらに、社会資源の消費（医療費用や介護費用）の積算において、相互の領域間でトレードオフが生じる可能性も想定され、モデルの設定などにおいて留意をする必要がある。

F. 健康危険情報

特になし

G. 研究発表

特になし

H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

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

（注）一部の結果は、他の研究活動の成果も応用

図1. 研究に利用したデータベースの概要

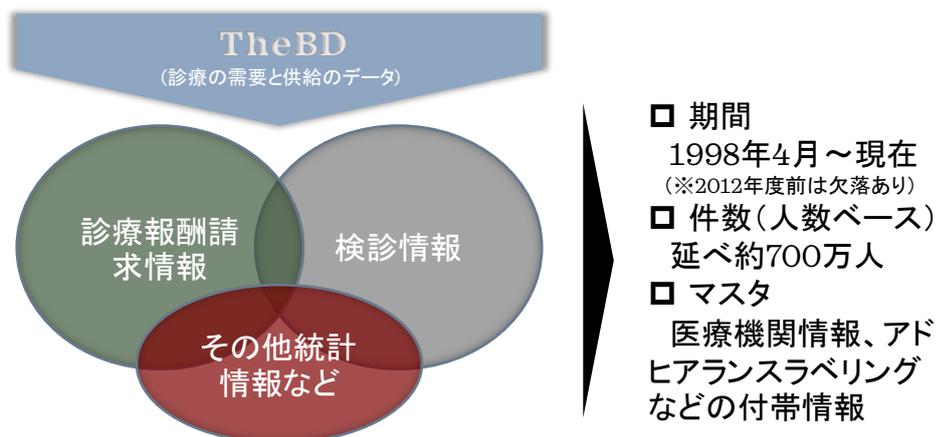


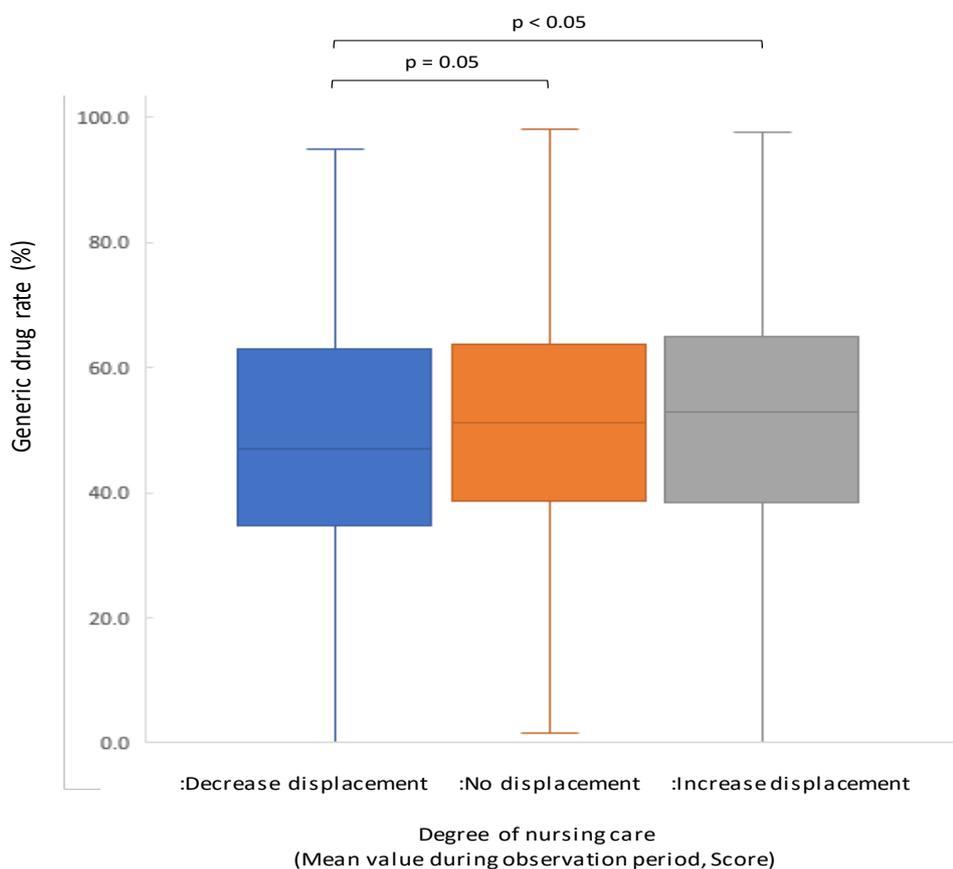
表1. 加齢と薬剤選択などの関係 (重回帰)

Multiple regression equation (objective variable: age [aging])

Item (explanatory variable)	Standard partial regression coefficient	p-value	Standard error	VIF
Nursing care level (class)	0.071	0.001 **	0.952	1.02
LDL cholesterol	0.154	0.000 **	0.006	3.68
Generic drug rate	0.108	0.000 **	1.000	1.03
Model	p<0.01			

** : p < 0.01, LDL cholesterol: low-density lipoprotein cholesterol, VIF: variance inflation factor

図2. 要介護度の変位と後発薬の選択率



(Note) Test: Mann-Whitney U test

2024 年度厚生労働行政推進調査事業費補助金（政策科学総合研究事業）
「医薬品・医療機器等の費用対効果評価における公的分析と公的意思決定方法に関する研究」

分担研究報告書

医療経済評価人材育成についての現状～慶應義塾大学 HTA プログラムを中心に～

後藤 励

慶應義塾大学 大学院経営管理研究科/大学院健康マネジメント研究科

1. はじめに

慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科では、2019 年度に国立保健医療科学院より「医薬品及び医療機器等の費用対効果評価のための人材育成プログラム開発事業」（以下、人材育成プログラム開発事業）を受託して、「医療経済評価人材育成プログラム」を開始した。5 年間が経過し、本事業は 2023 年度をもって終了した。

2024 年度より、「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価のための人材育成事業（大学院前期課程相当のもの）」を新たに受託し、2023 年度までに開発された人材育成プログラムを実行に移し、継続的に人材育成を進めることとなった。

本稿では、人材育成プログラム開発事業で得た課題を基に行われた 2024 年度からの事業の結果について報告する。

2. 医療経済評価人材育成プログラムについて

本プログラムでは、医薬品・医療機器等の費用対効果評価（以下、費用対効果評価）を行う人材を育成することを目的の一つとしているが、より幅広い人材に医療経済評価に興味を持ち学習と研究を行ってもらうために、ミッションとして「持続可能な保健・医療制度を支えるために、費用対効果評価を中心とした医療経済分析を、様々な視点を持って行うことができる人材を育成する」ことを掲げている。

2019 年度から行われている費用対効果評価に公的分析の立場から関わるものを育成する目的のためにも、追加的有用性の評価に必須の臨床試験に関する知識を修得するため、「臨床試験方法論」2025 年度から推奨科目とすることとした。

本プログラムのための教育コースである「医療経済評価コース」は、表 1 で示されるカリキュラムで実施した。疫学・統計学関連科目群及び医療経済評価関連科目群の 11 科目 20 単位を取得したものにサーティフィケート（修了証）を授与している。

表 1：医療経済評価コースにおける提供科目

科目名	開講学期	単位
■疫学・統計学関連科目群		
基礎疫学	春学期	2
基礎生物統計学Ⅰ	春学期	2
基礎生物統計学Ⅱ	春学期	2
応用生物統計学	秋学期	2
■医療経済評価関連科目群		
医療制度とレギュラトリーサイエンス	秋学期	2
医療経済学Ⅱ※	秋学期	2
ヘルスエコノミクス※	通年	2
医薬経済学	春学期	2
QOLと費用の評価	秋学期	2
医療経済評価特論	秋学期	1
費用対効果評価演習	秋学期	2
経済評価モデル分析演習	春学期	1
■取得推奨科目		
医療政策・管理学	春学期	2
製薬産業論	春学期	2
応用経済評価モデル分析演習	春学期	1
臨床試験方法論	秋学期	2

※1 「医療経済学Ⅱ」と「ヘルスエコノミクス」はいずれか1科目の履修を必須とする。

これらの科目の履修により、次のような費用対効果評価の専門家が修得することが求められる知識・能力を十分理解することが期待される。

1. 基礎的な数理的能力及び統計モデル等知識
2. 疫学・生物統計学の専門的知識
3. 研究デザイン、特に無作為化比較試験のデザインや統計的手法
4. 費用対効果評価に関するモデル構築あるいは統計解析
5. 費用を含めたデータの統計解析についての知識
6. 得られた費用対効果の結果の適切な解釈
7. 公的社会保障制度や医療供給体制等についての知識
8. 学会や査読つき論文を英語で発表できる能力

9. 費用対効果評価の専門家集団の一員としての自覚の修養と、その職業倫理に対する理解

このうち、8の学会や査読つき論文を英語で発表できる能力は、修士課程在学中には学会発表もしくは学会や査読付き論文の英語での公表は必須となっていないため、努力目標とし、費用対効果評価の専門家としてキャリアを進めたいものについては、修士課程修了後に博士課程に進学し研究を継続することを勧めている。

3. 医療経済評価コース履修者について

医療経済評価コース科目は、健康マネジメント研究科含む慶應義塾大学のすべての大学院学生の履修が可能である。さらに、学位課程に入学しない場合でも慶應義塾特別学生（科目等履修生）として履修することが可能である。

大学院健康マネジメント研究科の修士課程の入学試験は、国内外の多様な価値観を持つ学生を受け入れるため、Ⅰ期(7月)、Ⅱ期(11月)、Ⅲ期(1月)の年3回実施している。また、科目等履修生の手続き日程については、春学期または秋学期から受講が開始できるよう年2回実施している。2024年度より始まった人材育成プログラムでは、下の表2のような履修者数を計画した。

表2：人材育成プログラムにおける履修者の計画

入学年度	2024年度	2025年度	2026年度	2027年度	2028年度
本学大学院生の内 HTA コース受講者数の目安	10	10	10	10	10
科目等履修生受入れ人数	4	4	4	4	4

3. 初年度の結果

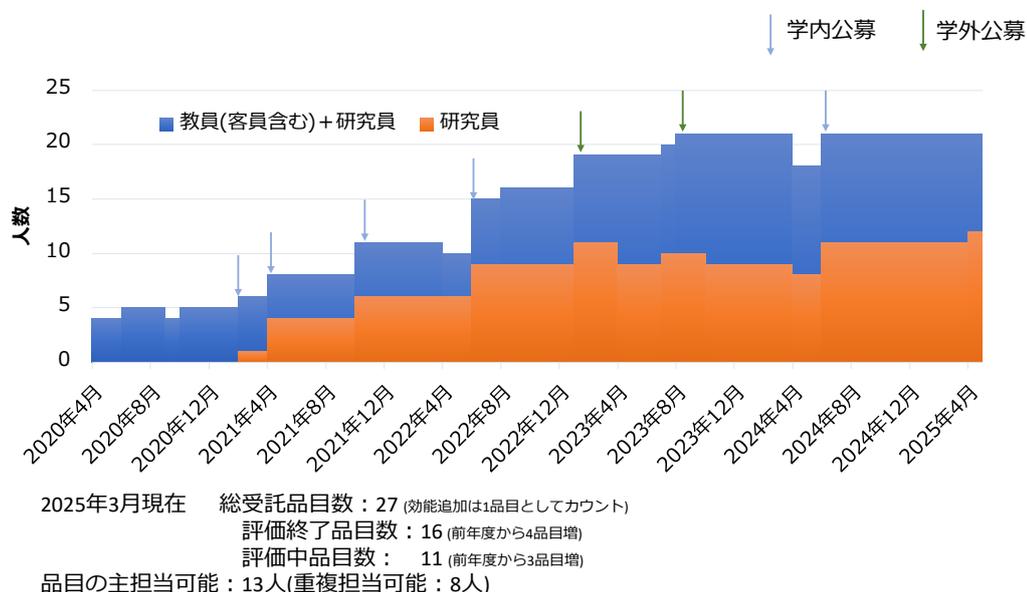
医療経済評価コースは学内外からの多様な履修者に間口を広げるため、どの科目から取り始めても良い設定としたため、正式にコース参加を申し込む形とはしていない。そのため、2024年度からの新規コース参加者の目安として、春学期に開講している「医薬経済学」の登録者を新規コース参加者とした。その結果、14名が新規コース参加者となった。

また、2024年度で終了した人材育成プログラム開発事業の受託期間中にコースの履修を開始したもののうち、2024年度に8名が医療経済評価コースの修了証を授与された。そのうち、7名が修士課程学生であり1名が科目等履修生だった。8名のうち、医師が3名、薬剤師が1名であり、博士課程に進学したものは2名であり、コース修了者のうち多くの

ものは、在学中に所属していた企業での勤務を修了後も続けた。

慶應義塾大学では、2020年度より費用対効果評価の公的分析班に参加している。医学部衛生学・公衆衛生学教室のもとに公的分析研究室を組織し、公的分析の委託事業で雇用した特任教員・研究員が中心となって業務を行っている。本学では、医療経済評価にかかる人材育成も行っているため、修士号を取得したものに対して公的分析業務に参加を募っている。

ここで、公的分析班の人員についても、図1に示す。2024年度で終了したした人材育成プログラム開発事業の受託期間中に、主に医療経済評価コース修了者に対して学内公募と、広く公的分析人材を求める学外公募を行って人員を補充した。



2023年後半からは、メンバーの異動等はあるものの非常勤も含め総計20名の人員で公的分析業務を行っており、2024年度までで総受託品目は27を数えている。一つの品目に対し、責任者である主担当1名と主担当を補佐する副担当1~2名をおいている。主担当に初めてなるものについては、経験豊かな教員が副担当としてサポートをする体制をとっている。その結果、現状では主担当が担当なのは13名となっており、常勤職で複数品目の担当が可能なものも8名いる。

4. 考察

本稿では、2024年度より国立保健医療科学院の「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価のための人材育成事業（大学院前期課程相当のもの）」を受託して発足

した、慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科の医療経済評価人材育成プログラムの初年度の報告を行った。

修士課程レベルの HTA コースでの人材育成は順調に進んでおり、年間 10～15 名が新規に参加している。また、公的分析班との連携も進んでおり、医療経済評価コース修了後、博士課程に進学するものや、すでに博士号を取得しているものを中心に公的分析への参加を勧めている。

大学院前期課程相当のものに対する人材育成によって費用対効果評価を含めた医療経済評価に興味を持つ人材を広く受け容れつつも、公的分析を行い、品目の主担当を行うのに必要な能力を育成するために今後も、人材育成事業と公的分析事業の連携を深めることが必要だと考えられる。

研究発表

なし

知的財産権の出願・登録状況

なし

刊行物なし

令和7年3月31日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
—(国立保健医療科学院長) —

機関名 国立保健医療科学院
所属研究機関長 職名 院長
氏名 曾根 智史

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 保健医療経済評価研究センター・センター長
(氏名・フリガナ) 福田 敬・フクダ タカシ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 明治薬科大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 越前 宏俊

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

- 研究事業名 厚生労働行政推進調査事業費補助金（政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業））
- 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
- 研究者名 （所属部署・職名）薬学部・教授
（氏名・フリガナ）赤沢 学（アカザワ マナブ）

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容：)

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣
 (国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
 (国立保健医療科学院長)

機関名 国際医療福祉大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 鈴木 康裕

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業(政策科学推進研究事業)

2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論 およびツール等の開発に関する研究

3. 研究者名 (所属部署・職名) 医学部・教授

(氏名・フリガナ) 池田俊也・イケダシュンヤ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)

当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容 :)
------------------------	---

- (留意事項)
- ・該当するにチェックを入れること。
 - ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 山口大学
所属研究機関長 職 名 学長
氏 名 谷澤 幸生

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名（所属部署・職名） 大学院医学系研究科 ・ 名誉教授
（氏名・フリガナ） 石田 博 ・ イシダ ハク

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> （有の場合はその内容：)

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 国立研究開発法人
国立長寿医療研究センター

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 荒井 秀典

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

- 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
- 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
- 研究者名 （所属部署・職名） 老年学・社会科学研究センター 医療経済研究部 副部長
（氏名・フリガナ） 大寺 祥佑（オオテラ ショウスケ）

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称： ）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由： ）
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合は委託先機関： ）
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由： ）
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> （有の場合はその内容： ）

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣
 (国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
 (国立保健医療科学院長)

機関名 慶應義塾大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 伊藤 公平

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 大学院経営管理研究科 ・ 教授
 (氏名・フリガナ) 後藤 励 ・ ゴトウ レイ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
 ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 国立大学法人岡山大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 那須 保友

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

- 研究事業名 政策科学推進研究事業
- 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
- 研究者名 (所属部署・職名) 学術研究院保健学域・教授
(氏名・フリガナ) 齋藤 信也・サイトウ シンヤ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和 7 年 3 月 18 日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長)— 殿
—(国立保健医療科学院長)—

機関名 藤田医科大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 湯澤 由紀夫

次の職員の令和 6 年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学推進研究事業
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 大学院医学研究科・教授
(氏名・フリガナ) 佐藤 大介・サトウ ダイスケ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項) _____

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 立命館大学
 所属研究機関長 職名 学長
 氏名 仲谷 善雄

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名（所属部署・職名） 総合科学技術研究機構 ・ 教授
 （氏名・フリガナ） 下妻 晃二郎 ・ シモヅマ コウジロウ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称：）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由：）
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合は委託先機関：）
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> （無の場合はその理由：）
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> （有の場合はその内容：）

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
 ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和7年3月31日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
—(国立保健医療科学院長) —

機関名 国立保健医療科学院
所属研究機関長 職名 院長
氏名 曾根 智史

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 保健医療経済評価研究センター・上席主任研究官
(氏名・フリガナ) 白岩 健・シロイワ タケル

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容：)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 国立大学法人東京大学

所属研究機関長 職 名 学長

氏 名 藤井 輝夫

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 大学院医学系研究科 医療経済政策学講座 ・ 特任研究員
田倉 智之（タクラ トモユキ）

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容：)

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長)— 殿
—(国立保健医療科学院長)—

機関名 新潟医療福祉大学

所属研究機関長 職 名 学 長

氏 名 西澤 正豊

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論
およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) リハビリテーション学部・教授
(氏名・フリガナ) 能登 真一・ノト シンイチ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)

当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容 :)
------------------------	---

- (留意事項)
- ・該当するにチェックを入れること。
 - ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和7年3月31日

厚生労働大臣 殿

機関名 立命館大学
所属研究機関長 職名 学長
氏名 仲谷 善雄

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名（所属部署・職名） 生命科学部 生命医科学科 ・ 准教授
（氏名・フリガナ） 森脇 健介 ・ モリワキ ケンスケ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査の場合は、その理由を記載すること。

（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容：)

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和7年 3月 27日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
—(国立保健医療科学院長) —

機関名 (独) 医薬品医療機器総合機構

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 藤原 康弘

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業 (政策科学推進研究事業)

2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究

3. 研究者名 (所属部署・職名) 医療機器安全対策・基準部 医療安全情報管理課・課長

(氏名・フリガナ) 里見 智美 ・ サトミ トモミ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

- (留意事項)
- ・該当する□にチェックを入れること。
 - ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和7年 3月 27日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
—(国立保健医療科学院長) —

機関名 (独) 医薬品医療機器総合機構

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 藤原 康弘

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

- 研究事業名 政策科学総合研究事業 (政策科学推進研究事業)
- 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
- 研究者名 (所属部署・職名) 医療機器安全対策・基準部 医療安全情報管理課・調査専門員
(氏名・フリガナ) 関 護和 ・ セキ モリカズ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

- (留意事項)
- ・該当する□にチェックを入れること。
 - ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和7年 3月 27日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
—(国立保健医療科学院長) —

機関名 (独) 医薬品医療機器総合機構

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 藤原 康弘

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業 (政策科学推進研究事業)

2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究

3. 研究者名 (所属部署・職名) 医療機器安全対策・基準部 医療安全情報管理課・調査専門員
(氏名・フリガナ) 森田 喬 ・ モリタ キョウ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他 (特記事項)

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。

(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容:)

- (留意事項)
- ・該当する□にチェックを入れること。
 - ・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

厚生労働大臣 殿

機関名 北海道大学

所属研究機関長 職 名 総長

氏 名 寶金 清博

次の職員の令和6年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 政策科学総合研究事業（政策科学推進研究事業）
2. 研究課題名 分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究
3. 研究者名 （所属部署・職名） 医学研究院 社会医学分野 医療政策評価学教室 教授
（氏名・フリガナ） 古元 重和（コモトシゲカズ）

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 <input checked="" type="checkbox"/> 未受講 <input type="checkbox"/>
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合は委託先機関：)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 <input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> (無の場合はその理由：)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 <input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> (有の場合はその内容：)

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。