

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～令和 7 (2025) 年度

総合研究報告書

研究代表者 福田 敬

令和 8 (2026) 年3月

目次

総合研究報告書

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	1-11
--	------

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））

総合研究報告書

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年目の研究では、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。2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事例に基づく課題の検討、諸外国における最新の議論、AIやリアルワールドデータの活用、さらにNDBや介護DBを用いた費用推計の方法、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、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価のガイドライン」の改定版を作成した。本分析ガイドラインは2026年1月の中医協総会で了承され、2026年度から分析に使用される予定である。

研究分担者

赤沢 学 明治薬科大学薬学部 教授
池田 俊也 国際医療福祉大学医学部 教授
石田 博 山口大学大学院医学系研究科 名誉教授
大寺 祥佑 国立長寿医療研究センター研究所 老年学・社会科学研究センター 副部長
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
齋藤 信也 岡山大学大学院学術研究院 特命教授
佐藤 大介 藤田医科大学医学部 教授
下妻 晃二郎 立命館大学総合科学技術研究機構 教授
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 教授
森脇 健介 立命館大学生命科学部 准教授
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
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
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
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

近藤美智子	山口大学医学部附属病院医療情報部
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
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

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える。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な側面があり、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。その上で、分析ガイドラインの改訂版を作成し、提案する。

1. 我が国における費用対効果評価の実例

中医協における医薬品等の費用対効果評価制度のもとで、評価が終了した品目について、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ツ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。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、プロファイ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。

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、2026 年 3 月までに指定された品目は 73 品目、そのうち実際に費用対効果の分析を行う品目が 61 品目であり、43 品目が分析を終了した。これらの課題を検討したところ、比較対照技術の選定、追加的有用性、介護費用の扱い等が挙げられた。比較対照技術については、分析ガイドライン上、「評価対象技術が導

入された時点で、臨床的に幅広く使用されており、評価対象技術によって代替されると想定されるもの」のうち「治療効果がより高いものを一つに選定する」ことが原則的な考え方としている。臨床的に幅広く使用するとは使用患者数のシェアで一律に決めるものではないとしているが、結果としてどの程度使用されていれば幅広く使用されていると解釈するかは必ずしも明確でない。しかし原則としてはより効果の高いものを比較対照として設定すべきであるという原則は維持すべきであり、また効果が同等であればより安価な品目を比較対照とすることも費用対効果の観点からは適切と考えられ、使用の程度は個別品目の分析枠組み作成の際に検討されるものと考えられた。「追加的有用性」については、諸外国の同様の取り組みにおいても”Additional Benefit”といった表現で用いられ、比較対照技術と比べて得られる追加的な有効性や安全性を表す場合が一般的である。一方、日本においては薬価算定時にも「有用性」といった用語（有用性加算など）が用いられており、両者の使い方が異なることが混乱を招く要因と考えられた。分析ガイドライン上では、追加的有用性を評価する際には、アウトカム指標として、「臨床的な有効性・安全性・健康関連 QOL の観点のうち、評価対象技術の特性を評価する上で、適切なもの（真のアウトカム指標など）を用いる」こととしており、これを適切に反映する用語を検討すべきと考えられた。これについて研究班で検討し、「比較対照に対する健康アウトカム指標での改善」として明確にすることを中医協に提案することとした。

また介護費用の扱いについては、レカネマブの評価事例を踏まえて、介護データベースを使用して分析可能性を検討したが、認知症の程度と介護費用を関連付けて分析することは難しく、今後さらに研究をすすめていくべきと考えられた。

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。

英国 NICE の Technology Appraisal における意思決定要素について調査した。2025 年 4 月から 2026 年 3 月までに公表された NICE Technology Appraisal (TA) を対象として、意思決定要素の分布と位置づけをレビューし、その制度的含意について検討した。分析対象は 92 件の TA であり、このうち terminated appraisal は 25 件、通常の committee discussion を伴う TA は 67 件であった。このうち 55 件で不確実性に関する記載が認められ、閾値表現は lower end 寄り 17 件、middle 19 件、upper end 寄り 10 件、明示的閾値表現がないなどその他 21 件に分かれた。

レビューの結果、NICE の appraisal が固定的な ICER 閾値の機械的適用ではなく、不確実性、uncaptured benefit、health inequalities、unmet need などの要素を踏まえて threshold judgement を調整する構造を有することが確認された。また、その判断が恣意的にならないためには、lay member を含む多様な委員会での合議が重要であり、さらに uncaptured benefit の把握には患者代表と臨床専門家の双方からの意見収集が不可欠であると考えられた。

海外主要 HTA 機関の医薬品技術評価における代替エンドポイントの妥当性評価とその費用対効果分析での扱いに関する事例調査を行った。医療技術の早期承認において効果評価に用いられる代替エンドポイント (SEp) の妥当性については事例毎

に適切な対応が求められている。本調査では、主要 HTA 機関である NICE、CDA-AMC (CADTH)、PBAC、HAS、IQWiG が、SEp の妥当性をどのように評価し、費用対効果分析に組み入れているか等について、6 つの医薬品について各々の医療技術評価文書により比較した。結果として、各機関では SEp の臨床的意義を一定程度認める一方で、既存の統計的なエビデンスにより MACE や合併症の発症、OS、死亡などの真のアウトカム(ハードアウトカム)が予測可能な妥当な SEp かを明確に断定されることはほとんどなく、それらの推定における代替性の判断にはいずれも慎重であった。医療技術評価のプロセスでは、SEp に関連した具体的なハードアウトカムとの相関のみでなく、SEp の長期外挿の適切なモデルの選択、効果の持続性やその後の治療選択、治癒判断のタイミングなどの不確実性を踏まえて検討がなされていた。最終的には、ハードアウトカムに対する不確実性の程度、構築された費用対効果モデル、および、効果指標、費用や時間水平の設定、対象患者の限定といった不確実性要因についての感度分析やシナリオ分析の元での ICER の値や変動などをどこまで許容するかによって推奨等の判断がなされていた。

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。

近年、生成 AI・大規模言語モデル (LLM) は、システマティックレビューや経済モデル構築、RWD 解析など HEOR 業務の効率化に寄与している一方、透明性・再現性の不足、ハルシネーション、バイアスといった課題が指摘されている。そこで HTA 領域における AI 活用の信頼性確保に向け、国際的ガイドラインの動向を整理した。ISPOR は ELEVATE-GenAI フレームワークを提唱し、モデル特性や再現性、バイアス評価など 10 領域での報告を求めている。NICE は AI 活用をエビデンス生成、技術評価、業務効率化の 3 領域で推進し、方法論整備を進めている。CDA-AMC は AI を補助的手段と位置付け、透明性と人間の関与を重視している。これらを踏まえ、日本の HTA 制度では AI 利用の明示、リスクに応じた段階的運用、人材育成、国際整合的な方法論整備が必要である。AI は有用だが、透明性と検証可能性を担保した慎重な導入が求められる。

また、中医協においても今後の検討課題として挙げられている費用対効果評価における RWD 活用について検討した。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。

日本の費用対効果評価制度におけるリアルワールドエビデンス (RWE) の使用実態を調べ、日本における活用事例について ISPOR Real-World Evidence Summit 2025 で報告した。また、その際紹介された REALISE (REAL World Data In ASia for HEalth Technology Assessment in Reimbursement) ガイドランスの全文翻訳を行った、さらに NICE が報告しているガイドラインを製薬協で評価した報告書の内容を踏まえて、日本で RWE を費用対効果評価のエビデンスとして活用するための方策について提案をまとめた。

3-2 評価ツールに関するもの

費用データの分析方法の確立に向けて、匿名医療保険等関連情報データベース (NDB) を用いた分析を行った。

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基礎的検討として、NDB を用い、新規治療薬に対する比較対照群の選定および長期的な費用データ算出における論点を明らかにすることを目的として実施した。対象疾患には、健康状態が原則として不可逆であり、かつ先行研究において抽出経験のあるパーキンソン病を選定し、新規治療薬としてレボドパ・カルビドパ配合経腸用液 (LCIG) を対象とした。分析方法は、パーキンソン病患者の DPC レセプト、医科レセプト、調剤レセプトを用い、レボドパ換算量に基づく LED 換算値から患者の健康状態を把握しつつ、患者単位の縦断データセットを構築した。さらに、LCIG 群と脳深部刺激療法群 (DBS 群) を比較し、患者特性、合併症発生状況、入院外医療費、入院医療費、在宅医療費等の推移を検討した。

分析の結果、LCIG 群の患者数は 2018 年以降増加し、2020～2022 年に増加が顕著であったが、2023 年 7 月に持続皮下注製剤が保険収載された後には減少に転じた。一方、DBS 群の患者数は分

析期間を通じて大きな変化は見られなかった。費用構造については、LCIG 群の入院外医療費が DBS 群に比して著しく高額であり、特に 45～64 歳では、LCIG 群が DBS 群の約 4 倍であった。他方、入院医療費や診療日数の群間差は比較的小さく、骨折や誤嚥性肺炎等の合併症関連医療費についても大きな差は認められなかった。また、誤嚥性肺炎は高齢化に伴い増加する傾向を示した一方で、2020～2021 年には一時的な減少がみられ、COVID-19 流行期における病名記載の変化の影響が示唆された。さらに、骨折には季節性が認められ、在宅関連診療行為では 2024 年 4 月以降に在医総管の急減が観察され、施設系サービスへの移行の可能性が示唆された。

これらの結果より、NDB を用いた比較対照群の設定と縦断的費用分析においては、治療技術の導入、感染症流行、診療報酬・介護報酬上の変化などが費用構造に影響し得ることから、長期的費用データ算出に際しては、こうした外的要因を踏まえた事前検討と手順を協議し、分析結果についても精査が必要であることが明らかとなった。

令和 7 年度に中医協でも議論された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検討した。

NDB と介護 DB に含まれる id4 を用いた追跡可能性について検討を行い、将来の費用対効果評価における NDB 介護 DB 連結データ利用の基礎資料を作成することを目的として、まず 2021 年 3 月診療分の NDB 特別抽出データのうち、RE レコードにおける id1n と id4 の突合状態を評価した。次に、個人を入院から退院後の介護サービス利用まで追跡することを想定し、NDB 特別抽出データを用いて、入院年月日が 2019 年 4 月である RE レコードの id1n のうち、介護 DB の介護明細情報において、サービス利用年月が 2019 年 5 月から 2020 年 3 月までの期間に存在する提供先番号に連結された id の割合を評価した。さらに、介護保険利用者の医療利用を評価する場合を想定し、介護 DB 特別抽出データを用いて、サービス利用年月が 2019 年 4 月である介護明細情報の提供先番号のうち、2019 年 4 月から 2020 年 3 月診療分の RE レコードに存在する id1n に連結された番号の割合を評価した。

その結果、医科、DPC、調剤の各レセプトについて、ユニークな id1n と id4 が一対一に対応していたものはそれぞれ 24, 012, 971 件、611, 408 件、14, 973, 975 件であった。

個人を入院から退院後の介護サービス利用まで追跡することを想定した場合、入院年月日が 2019 年 4 月である RE レコードのユニークな id1n は 778, 366 件であり、そのうち 26%が介護 DB の介護明細情報における提供先番号に紐付いた。一方、介護保険利用者の医療利用を評価することを想定した場合、サービス利用年月が 2019 年 4 月である介護明細情報のユニークな提供先番号は 4, 802, 457 件であり、そのうち 75.6%が 2019 年 4 月から 2020 年 3 月診療分の RE レコードに含まれる id1n に紐付いた。

これにより、NDB 内における id1n と id4 の突合状況を把握するとともに、id4 を介した NDB と介護 DB の横断的な追跡可能性を検証した。その結果、ID4 を利用することで、一定程度、医療介護を跨いだ解析が可能であることが示唆された。

QALY をアウトカム指標として用いた費用対効果評価を行う際に、公的医療・介護の立場からの分析では、介護者の QOL を反映することも可能である。そこでその方法について検討した。

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。

費用対効果評価に介護者の QOL 値への影響を加味しようとする際、Carer QALY Trap の発生という課題とそれを解消するためのモデル化の課題が指摘されている。本研究では、それらの課題を整理したうえで、Carer QALY Trap を解消するための現実的な手法を検討した。介護者の QOL を費用対効果評価に含める手法には、Utility approach, Disutility approach, Increments approach, Multiplier approach などが提案されている。しかしながら、いずれも利点や欠点があり、Carer QALY Trap を根本的に解消するものになっていない。最近になって、Carer の QOL を family effect と caregiving effect に分けて算出しようとする手法も提案されたが、これも Multiplier approach と同様に、任意の multiplier を定める必要があるため、不確実性が高い。これらに対して、Delayed deterioration approach という、本来患者が重症化していたら失われていたはずの QOL を実際には軽症のまま維持できた QOL の差として数える新たなアプローチ方法を提案した。

また、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。

3-3 その他

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。

最終的な意思決定のためのアプレイザルの方法について、Equity-Adjusted QALY (Quality-adjusted Life Year: 公平性で調整した質調整生存年) としての DCEA (distributional cost-effectiveness analysis: 分配的費用効果分析) について検討した。

医療資源配分において、効率性と公平性のバランスをいかに図るかは重要な課題とされてきた。昨今では、「Equity-adjusted QALY（公平調整 QALY）」という、明示的に QALY へ公平性の概念を組み込むアプローチが注目されている。その手法の一つである Shortfall 法については、これまでの本研究班の報告書でも取り上げられてきた。

一方、Equity-adjusted QALY におけるもう一つの主要なアプローチである DCEA (Distributional Cost-Effectiveness Analysis: 分配的費用効果分析) 法は、2024 年に英国の NICE (国立医療技術評価機構) が医療格差への対策としてガイドラインに掲載した経緯がある。

Shortfall 法が「Severity modifier（重症度に

よる補正)」として主に垂直的平等を扱うのに対し、DCEA 法は水平的平等、すなわち「健康格差の縮小」を目的としている。そこで今回は、DCEA の考え方および英国での動向を検討するとともに、わが国の費用対効果評価制度への応用可能性について示唆を得ることを目的として研究を行った。その結果、DCEA はその理論的基盤を支える社会の在り方や、国民の意識の部分で、わが国とは異なる面も多く、それをそのままわが国の費用対効果評価制度に導入するには、課題も多いと考えられた。

また、近年、費用対効果分析等と医療倫理の関係性については、従来に増して議論の深耕が望まれている。そこで「医療倫理と医療経済」を、診療ガイドラインにおける活用の視点も含めつつ整理を行った。限られた医療資源の配分に関する議論は、個人と社会のニーズ、そして臨床的側面と経済的側面との適切なバランスを達成することの重要性を強調している。臨床現場において一般に、基本的な倫理観に立てば、経済的な理由等で診療提供の可否を論じる余地は無いことになる。ただし、この権利を行使できるのは、健全な医療システムが存在することが前提となる。すなわち、個人と社会の益は、この整理により等しい方向で論じられる。この論旨は、患者の権利を尊ぶ医療倫理においても、拠って立つ診療環境（インフラ）を支える社会の貢献も併せて考慮する必要性を示唆している。診療ガイドラインにおける推奨などは、専門家集団のコンセンサス（集大成）と考えられるため、引用する研究報告のエビデンスレベルは、その証明力が一定の水準にあることが合意形成の面からも望まれる。一方で、費用対効果評価に多用されるモデル分析（シミュレーション研究）においては、モデル入力の不確かさ、モデル構造の妥当性、直接性、不精確さ、一致性、報告バイアスなどを総合した“モデル出力への信頼”を整理し、確実性の水準を議論する潮流もある。以上を踏まえ、医療イノベーションを促進し、患者の公平なアクセスを確保するためには、医療倫理と医療経済の関係性を幅広く論じつつ、診療ガイドライン等の枠組みの中で、医療経済評価の役割を検討することも不可欠と考えられる。

さらに、医療経済評価人材育成の現状について

調査しまとめた。

2019 年に開始された慶應義塾大学医療経済評価人材育成プログラムは、2024 年度から実施段階へ移行した。2025 年度は新規参加者 22 名（前年 14 名）と増加し、修了者は 12 名（修士課程 8 名、博士課程 1 名、科目等履修生 3 名）であった。医師・薬剤師・看護師など多様な専門職が参加し、医療経済評価に関心を持つ人材の裾野は着実に拡大している。また、公的分析班との連携により、修了者の実務参加も視野に入れた育成が進められている。

費用対効果評価制度は 2019 年度から本格的に実施されているが、その検討過程を記録しておくことは意味があると考えられるため、制度導入に向けた議論を整理した。

2019 年 4 月から開始された我が国の費用対効果評価制度も 7 年目を迎え、年間約 10 品目の分析が行われるなど、着実に制度の運営がなされている。こうした中、制度の運用実績を踏まえた検証や制度の見直しに向けた議論が中医協において継続的に行われている。これらの議論に基づく制度改正を着実に進めるためには、制度創設時の検討内容や意思決定に至った考え方等について関係者が正確に把握しておく必要がある。

費用対効果評価における価格調整については、2016 年度から行われた試行的導入の経験も踏まえ、専門家や関係業界の意見も踏まえながら、価格調整の対象範囲、価格調整方法、基準値の設定、配慮が必要とされた品目の価格調整方法、価格調整率、比較対象品目に対して費用が削減される品目への対応など、幅広い項目について繰り返し議論がなされ、最終的な方針が 2018 年度末に決定された。

方針の検討にあたっては、中医協において関係業界からの意見聴取を繰り返し行うとともに、試行的導入の対象企業からも継続的に意見聴取を行うなど、関係者のコンセンサスを得ながら行われた。

4. 分析ガイドラインの改訂案の作成

2 年間の検討を踏まえて、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価のガイドライン」の

改訂版を作成した。医療経済評価を行う際には、その透明性や比較可能性を担保するために、共通の枠組みに基づいて分析を行うことが望ましい。多くの国々では、政策応用にあって基本的な分析手法を定めた医療経済評価ガイドラインが医療技術評価機関などによって作成されてきた。我が国においても、費用対効果評価が2019年4月に制度導入されるのにあわせて、『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2版』（2019年2月20日 中医協総会了承）が本研究班の前身となる厚生労働科学研究費において作成され、以後診療報酬改定時における制度改正あるいは最新の学術的な状況に対応するため、2年に1回の頻度で改定されている。本研究班においても、各国における医療経済評価ガイドライン、学術的な状況の進展（学会、学術誌等による最新の報告など）、我が国における費用対効果評価制度の改定方針、公的分析班等からのインプットを受けて、研究班員により改定方針について検討を行い、改定後のガイドラインを作成した。本ガイドラインは2026年1月16日に中医協総会において了承され、2026年度から分析に使用される予定である。

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、「中央社会保険医療協議会における費用対効果評価のガイドライン」の改定版を作成した。本分析ガイドラインは2026年1月の中医協総会了承され、2026年度から分析に使用される予定である。

なお、本ガイドラインはWEB上で下記から入手可能である。

（日本語版）

https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_ja_2026.pdf

（英語版）

https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_en_2026.pdf

E. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

Akazawa M. Real-world data use in Japan.
ISPOR Real-World Evidence Summit 2025,
2025/9, Tokyo, Japan

G. 知的財産権の出願・登録

なし

研究成果の刊行に関する一覧表

該当なし
