

2025 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

NICE Technology Appraisal における意思決定要素

国際医療福祉大学医学部 池田俊也

要旨

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。

A. 研究目的

英国の National Institute for Health and Care Excellence (NICE) が公表する Technology Appraisal (TA) は、医療技術の臨床的有効性および経済性を評価し、NHS における推奨の可否を判断する制度である。しかし、その判断は単に費用対効果比の大小だけで機械的に決定されるものではない。NICE の現行マニュアルでは、委員会は clinical effectiveness と value for money を検討するが、その際には通常の cost-effectiveness levels として £20,000～£30,000 per QALY を念頭に置きつつ、不確実性、uncaptured benefits や non-health factors、health inequalities などの関連要素

を明示的に考慮するとされている。また、勧告形成にあたっては、NICE の equality および human rights に関する法的義務が前提とされており、委員会は提出されたエビデンスのみならず、stakeholder statements や expert opinion も踏まえて総合的に判断する。このことは、NICE の appraisal が、経済モデルの結果をそのまま採否に直結させる仕組みではなく、多面的な価値判断を制度化した意思決定過程であることを示している。

本研究の目的は、2025 年 4 月から 2026 年 3 月までに公表された NICE TA を対象として、第一に、不確実性がどのように閾値判断に反映されているかを整理すること、第二に、equality および uncaptured benefit がどの程度意思決定に組み込まれているかを明らかにすること、第三に、そのような判断が恣意的にならないための制度的条件として、lay member を含む多様な委員会での合議、および患者代表・臨床専門家からの意見収集の意義を検討することである。

B. 研究方法

分析対象は、2025 年 4 月から 2026 年 3 月までに公表された NICE TA 一覧である。レビューにあたっては、TA1140 が TA1088 を更新・置換した guidanceであることを明記しているため、本報告書では両者を 1 件として扱った。その結果、分析対象は 92 件となった。

92 件のうち、terminated appraisal は別群として整理した。terminated appraisal の判定は、タイトルに terminated appraisal と明記された TA を基準とし、その内訳は備考欄の記載に従って整理した。通常の committee discussion を伴い、意思決定要素を比較可能であった TA は、terminated appraisal を除いた件数とした。

各 TA について、タイトル、公開日、Uncertainty、Equality、Uncaptured benefit、Severity modifier、その他、閾値、備考を抽出し、一覧表に記載された確認結果を基礎として再集計した。めに再分類ルールを設定した。

具体的には、Uncertainty は『記載あり』と『記載なし』に区分し、その上で『大きい』『substantial』『減少』『閾値に反映』等の性質を補足的に確認した。Equality は、『なし』に加え、『論点はあるが勧告への影響なし』『勧告で対処できない』『差別的影響なし』等の趣旨の記載を『なし／勧告への影響なし』として統合し、『意思決定において考慮する』『意思決定に反映』『閾値決定において考慮する』等の趣旨の記載を『意思決定において考慮する』として統合した。Uncaptured benefit は、『あり』『考

慮する』『意思決定に反映』『閾値に反映』等の趣旨の記載を『あり』として統合し、『なし』および『大半は既に QALY に反映』等の趣旨の記載を『なし』として統合した。Severity modifier は、1.2、1.7、部分適用、なし (severity modifier 適用なし)、記載なしに分類した。閾値は、『around £20,000』『towards the lower end』『around the middle』『towards the upper end』『around £30,000』等の表現を、lower end 寄り、middle、upper end 寄り、記載なし・その他に整理した。

また、制度面の記述については、NICE の公式マニュアルおよび公式 guidance を参照した。

C. 結果

分析対象の 92 件の TA のうち、terminated appraisal は 25 件であり、通常の committee discussion を伴う TA は 67 件であった。terminated appraisal 25 件の内訳は、企業からのデータ提出なしが 19 件、企業による撤回が 5 件、延期が 1 件であった。

Uncertainty については、67 件中 55 件で何らかの記載が認められ、記載なしは 12 件であった。閾値の再分類では、lower end 寄りが 17 件、middle が 19 件、upper end 寄りが 10 件、明示的閾値表現なし・非定型が 21 件であった。

Equality については、再分類の結果、67 件中 40 件が『なし／勧告への影響なし』、9 件が『意思決定において考慮する』、18 件が『記載なし』であった。

Uncaptured benefit については、67 件中 22 件が『あり』、17 件が『なし』、28 件が『記載なし』であった。

Severity modifier については、67 件中、1.2 が 4 件、1.7 が 3 件、部分適用が 2 件、severity modifier 適用なしが 14 件、記載なしが 44 件であった。

その他の要素としては、unmet need、innovation、first-in-class、first targeted treatment、substantial clinical benefit などの記載が複数の TA で認められた。

QALY を用いた費用効果分析のほかに、費用比較分析 11 件、費用最小化分析 1 件、NMB 使用 1 件が確認された。

D. 考察

今回のレビューより、NICE の appraisal が固定的な ICER 閾値の機械的適用ではなく、不確実性をどのように取り扱うかを中心に構成されているという点が確認され

た。実際、67 件中 55 件で不確実性に関する記載があり、閾値表現は lower end 寄り (20,000£/QALY)、middle (25,000£/QALY)、upper end 寄り (30,000£/QALY) に分散していた。このことは、NICE が単一の許容ラインをすべての TA に一律に当てはめているのではなく、不確実性の大きさや性質に応じて受容可能な threshold judgement を調整していることを示している。

2026 年 3 月 30 日までの『NICE technology appraisal and highly specialised technologies guidance: the manual』(PMG36) では、通常の cost-effectiveness levels は £20,000~£30,000/QALY と記載されていた。(2026 年 3 月 30 日に改訂された PMG36 では、通常の cost-effectiveness levels は £25,000~£35,000/QALY と変更になった。) 一方、本レビューで対象とした 2025 年 4 月から 2026 年 3 月までの公表 TA の committee discussion では、受容可能な閾値について『around £20,000 per QALY』『around the middle』『towards the upper end』等、個別 TA 本文に即した多様な表現が用いられていた。

また、不確実性は単独で判断されているわけではなく、しばしば希少性、小集団であること、first-in-class であること、エビデンス生成の困難さ、unmet need、substantial clinical benefit といった要素と結びついていた。NICE のマニュアルでも、rare diseases や innovative and complex technologies 等では、より高い不確実性が許容されうることが示されている。すなわち、不確実性は単純に『あるかないか』ではなく、その不確実性がどのような文脈で生じ、他の価値要素によってどこまで補正されうるかという観点から扱われている。

Equality については、結果上は『なし/勧告への影響なし』が最も多かった。しかし、このことは equality の重要性が低いことを意味しない。実際には、年齢、人種、妊娠、地理的アクセス、社会経済的背景、皮膚色、障害などが論点として挙げられたうえで、『recommendation で直接は対処できない』『勧告は protected characteristics を持つ人に差別的影響を与えない』等と整理されている例が見られた。したがって、equality は recommendation の文言変更には直結するとは限らないが、勧告の法的・倫理的妥当性を点検する観点として重要である。

ここで重要なのは、不確実性の程度に応じた閾値調整や equality に関する議論が、恣意的な価値判断に陥らないようにする制度的条件である。この点で、lay member を含む多様な委員会での合議は極めて重要である。NICE の standing committee は、NHS、lay backgrounds、academia、life sciences companies、experts in regulation な

どを含む構成とされている。これは、統計学的・経済学的な観点だけでは十分に扱いきれない『どの程度の不確実性を社会として許容できるか』『どの equality concern をどの程度重視するか』という問いを、複数の視点から検討するための制度設計と理解できる。

NICE では、委員会は提出された evidence に加え、stakeholder statements や experts の意見も踏まえて勧告を形成する。さらに、clinical experts や patient experts は written evidence を提出し、必要に応じて committee meeting に参加することができる。provisional recommendations は consultation に付され、public observers による傍聴の仕組みも設けられている。したがって、恣意性を抑える仕組みは、委員構成の多様性、合議、公開性、consultation の組み合わせによって成立していると考えられる。

Uncaptured benefit に関しては、67 件中 22 件が『あり』と整理されており、QALY に十分反映されない便益が NICE の appraisal において相応の頻度で明示的に扱われていた。その内容は、投与頻度の減少、在宅投与や外用療法の利便性、通院負担の軽減、介護者や家族の負担軽減、スティグマや心理的苦痛の改善、妊娠や就労・学業への影響など、多くが患者の lived experience に根ざしたものであった。

ここから導かれる重要な点は、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特に重要であるということである。患者代表は、通院や投与負担、心理的・社会的影響、家庭生活や就労への影響といった、モデル上見えにくい便益を可視化する役割を担う。一方、臨床専門家は、その便益が比較対照との関係で本当に追加的なものか、care pathway の中でどれほど意味を持つか、既存の utility や adverse event モデルにどこまで部分的に取り込まれているかを吟味する役割を担う。患者代表だけでは lived experience は把握できても比較上の妥当性は判断しにくく、臨床専門家だけでは治療の意味づけはできても生活上の影響を十分に把握しにくい。両者の意見を併せて収集することではじめて、uncaptured benefit は appraisals に耐える判断材料として機能しうる。

さらに、Equality と Uncaptured benefit は概念上は区別されるが、実際の committee discussion ではしばしば重なり合っていた。たとえば、黒色・褐色皮膚で便益が過小評価される可能性、社会経済的に不利な集団における通院負担、妊娠や育児に伴う treatment burden などは、equality issue であると同時に、経済モデルが十分に捉えにくい uncaptured benefit の問題でもある。今後は、これら二つの要素の交

差をより体系的に検討することが望まれる。

日本への示唆としては、assessment の技術的精度を高めるだけでは不十分であり、appraisal の制度設計そのものをどう構造化するかが重要である点が挙げられる。すなわち、ICER をいかに扱うかという問題だけでなく、不確実性をどの程度許容するか、equality をどのような手続で点検するか、uncaptured benefit を誰の声によって補完するかを制度的に位置づける必要がある。その際、価値判断を排除することは不可能であり、重要なのは、誰が、どの根拠に基づき、どのような手続で判断するかを明示することである。NICE の経験は、そのための制度的参照点となる。

E. 結論

2025 年 4 月から 2026 年 3 月までに公表された NICE TA 92 件をレビューした結果、terminated appraisal を除く 67 件の多くで、不確実性が明示的に議論され、閾値判断は lower end 寄り、middle、upper end 寄りに分かれていた。これは、NICE の appraisal が固定的な ICER 基準の単純適用ではなく、不確実性の大きさと追加的価値要素に応じた threshold judgement によって成り立っていることを示している。Equality は、多くの TA で最終的に『勧告への影響なし』として整理されていたが、勧告の法的・倫理的正当性を点検する重要な観点として機能していた。Uncaptured benefit は、QALY に十分反映されない患者・家族・介護者の経験を appraisal に接続する要素として、一定数の TA で明示的に扱われていた。

以上から、不確実性や equality の議論を恣意的にしないためには、lay member を含む多様な委員会での合議が重要である。また、uncaptured benefit を適切に把握するためには、患者代表と臨床専門家の双方からの意見収集が特に重要である。NICE の経験は、日本においても、assessment の精度向上に加えて、appraisal の透明性、参加性、正当性をどのように制度化するかを考えるうえで、有用な示唆を与えるものである。

参考資料

NICE. NICE technology appraisal and highly specialised technologies guidance: the manual (PMG36). <https://www.nice.org.uk/guidance/pmg36/resources/nice-technology-appraisal-and-highly-specialised-technologies-guidance-the-manual-pdf-72286779244741>

F. 健康危機情報

特になし

G. 研究発表

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