

わが国における医療技術評価 (HTA) の課題と展望

フィリップ・フォシェ (欧州製薬団体連合会：EFPIA Japan)

鎌江伊三夫 (東京大学公共政策大学院)

福田 敬 (国立保健医療科学院)

司会 津田 重城 (医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団)

平成 24 年 9 月 21 日 (金), 医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団会議室

津田(司会) 今日は、お忙しいところをお越しいただきましてありがとうございます。

「医療技術評価の課題と展望」について、専門家の鎌江先生と福田先生、そして欧州製薬団体連合会の会長を務めておられますフォシェ先生からお話を伺います。

この問題は非常に多くの側面があると思います。まずフォシェ先生に、医薬品の価値、特にイノベーションというに値する医薬品をどのように評価をするべきなのか、ご意見をいただければと思います。

フォシェ 評価を目標とするどのようなシステムにおいても、特にイノベーションということを評価するには、やはり透明性のあるガイダンスやプロセスが必要だと思います。そうすることによって、各ステークホルダーがいつ、どのように、何を評価されるのかをきちんと理解できるからです。イノベーションの背景には必ず大きな投資があります。それは私的な投資であれ企業としての投資であれ、そのフィールドにおいて、何らかの予見性あるいは可視性が必要になります。

特に、われわれが活動している製薬業界では、多くの企業活動に非常に時間もかかるので、ある時点ではこうだったけれども、開発してみたらこうだったということでは困るわけです。何らかの予見性が必要です。

司会 鎌江先生はイノベーションの評価ということを、どのように考えておられますか。

鎌江 イノベーションの評価では価値の問題が重要です。そのためには、イノベーションを問う前にまず、新しい医療技術の価値を測る必要があるという考え方に立たなければなりません。また、与えられた医療技術の価値を測

るためには、価値を定量化して評価する基本的な方法論が必要です。その方法論を用いて、何がイノベーションで何がそうでないのかといった判断や議論もできるようになるわけです。

ですから、いきなりイノベーションの価値を評価するという方法を先に考えるよりも、まず先に一般的な医療の価値を測る方法を開発し、そこからイノベーションの位置づけと評価の方法について検討していくことが大切だと思います。

◎◎医薬品や医療の価値評価とは

司会 ありがとうございました。福田先生はどのようにお考えですか。

福田 私も、基本的には医療、特に医薬品の開発等において、イノベーションは非常に重要だと考えています。というのは、それによっていい薬ができれば、人々の健康状態がよくなるとか、長生きできるとか、そういう効果を期待できるので、これはとても重要なことだと思います。

ただ、やはり考えなくてはいけないのは、先ほど鎌江先生からも発言がありましたが、“イノベーションとは何か”ということだと思います。特に、これを評価する段階においては、イノベーションとは何かということが重要だと思います。

個人的には、やはりイノベーション、イノベティブな技術というのは、最終的に患者さんの健康状態に貢献するということであって、例えばその開発に相当な投資をして進めても、最終的に出てきたプロダクトが臨床的に、患者さんにとってメリットがあるものでなければイノベーショ



ンとは言いにくいのではないかと考えています。

そのために、イノベーションを評価するとしたら、まず臨床の場で患者さんにどう貢献するかが重要ではないかと思っています。

司会 ありがとうございます。近頃は、ファーマコエコノミックス関連の会議、例えば ISPOR (国際医薬経済・アウトカム研究学会) の日本部会や東京大学政策ビジョン研究センターのシンポジウムなどが多数開催されています。

7月24日開催の ISPOR 日本部会・特別セミナーが、雑誌『医薬経済』(2012年8月1日号、医療経済社)に取り上げられていました。その中で、医薬経済の専門家は医療技術評価 (HTA) の導入に積極的で、例外として、ある大学教授がデータの収集方法等の問題点を指摘したが、その方は少数派であった。一方、製薬企業側はやはり慎重な発言をしていたと、紹介されていました。ただ、中央社会保険医療協議会 (中医協) の元委員だった方のように、医療費を抑制するとおっしゃる方もいて、往々にしてこういう問題は二項対立で政治的な駆け引きになってしまったようです。

そのとき鎌江先生は、「そのような政治的な駆け引きで議論してはいけない、学術立国として日本の見識が問われている」と発言されていました。その発言の真意について、鎌江先生からお話いただけますか。

鎌江 ありがとうございます。私もその記事は読みましたが、バランスよくあの日の議論がまとめられていると感じました。

基本的には経済評価導入についての賛否両論がある中で、いろいろな立場で異なる意見があると議論が建設的に進みにくいのかもしれません。厚労省での討議が話の流れによっては、頓挫するかもしれないという危惧もあるかと思っています。私は、事の本質といいますか、問題をもう少し

広く大きく、歴史的な俯瞰やわが国のグローバル戦略まで含めての議論が必要と考えています。経済評価の政策導入は、いろいろな意味で、学術立国日本としての見識が問われるような本質的問題を抱えています。したがって、狭い意味での利益代表の意見や、既得権の擁護のための政治的駆け引きといった流れで、この問題を議論するのはよくないと思います。

それぞれの人がグローバルな視点で問題を見据えた上で、各人の意見をどのように修正するのか、あるいは反対であれば、どういう形で逆のテーゼがあり得るのかという枠で議論をすべきだろうという意味で発言いたしました。

その根本にある問題は、HTA という言葉の意味をいろいろな立場の違う人たちがそれぞれ異なって理解していることでしょう。そのため、意見が異なってくるのだらうと思います。

したがって、HTAの問題に関する共通の認識、すなわち、立場は異なっても、共有して理解できる部分をまず確立する必要があります。その意味でも、学術立国としての議論が必要であらうと申し上げました。

そこには二つの視座があります。第1は、学問と行政とを区別するということが大切だということです。HTAの流れには、英国 NICE の話で代表されるように、行政の関与が強く表に出てきます。しかし、根本には医薬経済学という学問があります。医薬経済学という学問と、そこから生じてくる社会的な影響、人材あるいはビジネスに対するアプローチの変化というものは、大きく関連してはいますが、本来、HTAの行政と学問は区別して認識されるべきものです。

そこを混同すると、立場の違いにより話がかみ合わない面も出てきます。ですから、学問としての医薬経済学とそ



フィリップ・フォシェ

の応用としての行政をきちっと区別してとらえる必要があります。

第2点は、学問としての医療経済学が持っているその可能性と限界を、どうとらえるかという問題です。これは学問ですから、現実に応用できる可能性があります。その切り口として二つの大事な面があります。先ほどフォシェ先生も示唆されたように、まずは医療のイノベーションの問題をどのように扱うかということです。イノベーションの評価をするときには、医療経済学という学問の世界が、これを可能にするという潜在力を持っています。おそらくこれ以外の学問ではできないと思います。そういう意味で、イノベーションをいかに評価していくかということについての医療経済学の持つ意味、意義といったものは非常に重要で、これを外すことはできません。

先ほど、政治的な議論に終わってはいけないという意味で学術立国というお話をしましたが、その「学術」というところに繋がります。学問の基盤なくして学術立国は成り立ちません。医療経済学もしかりです。特にこの分野に関しては、わが国の人材あるいは研究・教育の基盤はほとんど整備されておらず、欧米に比べて大きく立ち遅れています。イノベーションの評価手法を確立するという学術的な立場からいって、これをしっかりと認識しておく必要があるだろうと思います。

もう一つは、学術立国やイノベーションの話と対にして議論されるべきなのが、費用削減の話です。医療経済学が、

あるいはHTAが、単に費用削減の道具だという捉え方をするのが果たして正しいかということです。もちろん、費用削減に反対であるという意見もあるわけですが、

費用を削減すべきかどうかというのはまさに政治的な議論だと思います。削減の是非はともかく、医療費の無制限な増大を放置できないのは明らかなので、その問題を何らかの形で救済できるある種の合理的手段を持つべきだと思います。これは削減という問題とは、本質的には違います。もちろん医療費だけではありませんが、医療のもつ広範な価値といったものを、いかに合理的に現実整合させ得るのかということについて、医療経済学という学問は、それなりに回答を与えてくれる潜在力を持っているわけです。

ですから、削減の議論をするときに、その部分をきちっと理解していないと、費用をただ削減するためにHTAを使うのはけしからんといったような、ある意味では誤解、あるいは非常に皮相的な理解でこの話に対する議論が流れてしまうという心配があると思います。長い目で見ると、それは学術立国としての日本にとってはマイナスになります。

司会 ありがとうございます。今、鎌江先生からHTAをどういうスタンスで議論すべきかについてお話いただきましたが、フォシェ先生はどのようなご意見をお持ちでしょうか。

フォシェ 鎌江先生のおっしゃったことは、まさに明確で非常にいいポイントを突いていると思いました。特に、この議論をする人たちの中で忘れがちなのが、日本の制度の中には既にHTAの幾つかの要素が含まれているという点です。

現在の制度を見てみますと、既に2年ごとに薬価が改定される制度があります。ほとんどの場合、薬価は下がりますが、同時に、その頻度は少ないですが、適正な価格に再算定される可能性も提供されているわけです。ですから、既に行政当局は薬剤費の予測はできており、価格のコントロールができていと言えます。また、同時に医療全般における医療費全体の予算のコントロールもできていると思います。先進国全体を見ても、GDP当たりの医療コストは、日本は非常によくコントロールされていると言えます。

このような観点から、日本をうらやましいと思っている国はたくさんあります。ですから、この事実を時折強調する必要があるのではないのでしょうか。欧州などの国々では、既に何らかの形でHTAが導入されている国がありますが、そういった国の状態を見ると、当局が当初予測したよりも医療全体のコスト削減にはつながっていないという実態が分かります。場合によっては、医療費全体のコストの加加速率が導入前よりも上がってしまったという国もありま

す。

一方、日本を見てもみると、鎌江先生がおっしゃっているように、既に良い制度であると思います。例えば、国民皆保険によって、国民全員が質のよい医療を享受することができますし、制度の中にはイノベーションにおける評価も含まれているのです。

日本の制度には既に HTA の要素が含まれている、つまり、HTA 的な側面を持った制度が日本の資産として存在しているという前提で、HTA について考えるべきであると思います。どのようにしたら HTA を導入できるか、こういった法律を制定すれば HTA が活用可能になるかという議論ではなく、既に資産を持っているという観点から議論を始めるべきです。

また、医療経済学に基づくデータを申請の際に添付するというような話や、あるいは承認が下りて薬剤のライフサイクルにわたってどのように評価をするかという点に関しましては、まず、ガイドラインをきちんと作って、そして、スケジュールを立てて進めていくべきであろうと思います。

こういったことが整備されながら段階的に HTA は導入されていくべきであると思いますので、日本版 HTA ということで、他の国の模倣ではない、日本版の HTA のシステムを構築することが望ましいと考えています。

以前から、日本においては薬剤の導入におけるタイムラグがあるということが問題になっていました。例えば、他の国で承認が早く下りたのにもかかわらず、同じ薬剤がなかなか市場に出ないという問題がありました。この問題が繰り返されるべきではないと私は思っています。HTA のような新しい制度を導入することによってドラッグラグがまた発生するということは回避しなければなりません。

ですから、新しい制度の導入時には、医薬品の承認を遅らせるのではなく、承認後にデータを収集することにもっと注目し、システムを構築し、あくまでも患者さんにいい製品が早く到達するという薬剤へのアクセスを確保することが大事だと思っています。

◎◎増大する医療費に合理的な評価を

司会 福田先生にも、どのような立ち位置で議論をすべきかということと、また、フォシェ先生の発言で、日本の現在の医薬品の経済的な評価システムには、既に HTA の要素が入っているということについて、お伺いしたいと思います。

福田 先ほど鎌江先生からお話がありましたが、私も、まずは大きな方向性について議論するとか、共通認識に立つというのが重要だと思っています。このような HTA を、なぜ日本で今、導入しようとするのかというところが大切

です。

冒頭申し上げたとおり、私としては、やはり医薬品自体のイノベーションを進めるべきですし、それによって患者にとってのメリットは大きいですから、これは今後も進めていくべきだというのは基本的に思います。

日本は今更言うまでもないですが、50 年以上の歴史をもつ国民皆保険制度といういい制度を持っていますから、今後出てくる新しい医薬品、特にそれが今までのものより有効性・安全性に少しでも優れるのであれば、全て国民皆保険である医療保険制度でカバーしていくというのが理想だと考えています。

ただ、それに伴って、どうしても医療費が増えていくということになります。これまで日本で医療費が増えてきた理由には、もちろん高齢化等の影響もありますが、こういう新しい医療技術・医薬品等が出てきたことによる影響もあります。それがいけないというわけではなく、必要なことですので、当然支えていく必要があります。ただ、そうすると今後、出てくる全ての医薬品、今までより少しでも有効性・安全性に優れるものを全て含めていくのであれば、それなりに増える医療費負担をわれわれ国民が分担しますと、そのためだったら保険料が何%になっても構いませんとか、それこそ消費税が何%になっても負担しますというような合意を一緒に得ないと、全てをまかなうのは難しい状況に来ているのではないかと思います。

かといって、HTA を導入したら医療費が減るかという、やはりそれはないと基本的には思っています。

つまり、こういうことを導入することによって、今後増えていく医療費をどのように支えていくのか、その合理性を高めるということが重要な点ではないかと思っています。

フォシェ先生がおっしゃった、日本の制度には HTA 的な要素が入っているというご指摘は、日本の薬価制度等でも例えば類似薬効を比較して有用性加算、画期性加算等があったり、そういう要素等を言われているのかなと思っています。ご指摘のとおりで、今でもそういう要素が含まれていると思います。

ただ、現段階では、あくまでも新規医薬品の導入時だけに限定される治験データに基づく定性的な評価が、ある程度薬価算定等に用いられているということです。これを更に発展させて、ある程度定量的に評価をし、場合によっては市販後のデータも使って評価していき、それによって制度に反映させる。いいものはよりいい評価をして、費用対効果の観点からそうではないものはそういう評価をしていくというのが、今、求められているところではないかということです。全く新しくということではなく、ご指摘のとおり、今ある要素を生かしつつ、それを更に定量的で透明性の高い評価、合理的な判断ができるような評価に結びつ

けていくというのが重要ではないかと思います。

◎◎学問としての医薬経済学と行政における HTA 導入の区別

司会 福田先生は中医協の専門部会に参考人として出席されています。中医協での議論は、今までに4回会議がありました。

会議の2回目、3回目までの段階では、2012年の秋頃までに試行的な評価の具体的な対象技術の選定を行い、医療技術の重粒子線治療を最初のパイロットの評価例として挙げられていました。医薬品でもそういう評価例を取り上げてみるべきではないかと思いますが、まだ、具体的にはなっていないと伺っています。

今まで、各先生のお話を伺って、中医協では2014年には何か一つ、医療機器か、医薬品か、医療技術かなど、とにかく試行をやってみたいという方向性があると思います。その議論の進め方、あるいはスピードなどについて、鎌江先生のご意見はいかがでしょうか。

鎌江 非常に難しいところです。中医協の議事録を見ると、第1回の会議では、各委員の共通認識やあるいは共通認識を作るための議論が十分でないままに、論点整理という形で方法論も含めた話が始まったために、各委員から、もう少し手前の議論を詰めるべきではないのかという意見が出されていました。

実際、森田朗先生（中医協会長）が部会の中で、「ある意味、誰もがコンセンサスとして持つような、目標のようなものをあまり見失わないような形で議論を進めたほうがいいのではないか。いきなり各論的な議論をするよりも、その辺をまず少しやりましょう」とうような発言をされて、その後、いわば揺り戻したような形の議論になったのだと思います。そこから、何とかパイロットスタディーまでというようにところに話が辿りついたのではないのでしょうか。

私には、この流れは少し性急なようにも見えます。私個人としては、こういう分野は世界に遅れているから推進すべきだという、基本的には支持派ですが、性急な議論をするのは適当でないとも思っています。

その論拠は、先ほどお話ししましたように二つの点があります。まず、学問としての医薬経済学と行政としての HTA の導入を、適切に区別して考えるべきです。中医協の部会で議論されるのは大変大きな進歩だと思いますが、わが国において学問としての医薬経済学の醸成という部分が十分でないところで、行政としての HTA の導入だけをいきなり方法論の部分で入れようとなると、混乱が起きても仕方がないという面もあるでしょう。

長い目で見たときに、医薬経済学という学問、そして

HTA というものを用いた合理的行政、最近これは英語圏ではバリュー・ベースド・ポリシー・メーカーグと言われますが、価値に基づいた医療政策の立案、あるいはその実現を促進していく上で、逆にマイナスになる心配があるということです。ですから、中医協の今の議論の流れには少し懸念を持っています。

もう一つは、このパイロットスタディーという話には、中医協の議論の混乱というか、ある種の思い込みがあるような気がします。

パイロットスタディーを実施する意味は何なのかということ、もう少し議論したほうがいいのではないのでしょうか。先ほど言いましたように、学問としての医薬経済学と行政としての HTA の導入を区別して考えると、学問としてのスタディーは、欧米ではこの10年ぐらいでもう相当数が行われています。しかし、その研究基盤の薄い日本でパイロットを慌てて短時間でやって、いったいそこに何を見いだすのかということです。つまり、HTA の基礎にある学問的価値を検証するというような意味でスタディーをやるということは、ほとんど無意味だと思われます。

その点、HTA を行政として実現するときに、わが国のデータの利用可能性や、あるいは臨床実践の中で果たして質の高い分析を行うことが可能なのかどうかを探る意味でのパイロットスタディーはあり得るのかもしれません。しかし、そのような位置づけであれば、分析のための透明性のあるガイドラインが必要です。しかし、ガイドライン自体がはっきりとできあがっているわけではありませんから、焦ってパイロットスタディーをやっているかという問題がでできます。

あるいは、目標そのものが、私が先に述べました第2の論点としての、イノベーションの評価なのか費用のコントロールなのかという話も煮詰まらないままにパイロットスタディーをしても、分析結果をどのような形で評価すべきなのかに疑問が残ります。イノベーションの評価を検証するために行うのか、それとも重粒子線治療の施設は費用対効果が悪いから日本中でたくさん作っていくことは認められないといった類の、ある種のネガティブな政策の論拠に使うのかによって、このパイロットスタディーの意味は変わってくると思います。

厚労省の意図が何であるかはさておき、客観的な座標軸に基づいた透明性のある議論を担保する流れの中で、大義ある HTA の導入を図るべきだというのが私の持論です。学術立国としての日本、あるいは技術立国としての日本が大事だと思っていますので、そういう目で見ると、何か裏に書かれたシナリオがあって、無理な時間的スケジュールでのロードマップに従い、一気にそこに向かって走っているというのが今回の行政の手法なのであれば、それは長

い目で見たとときに、あまりよろしくない面もでてくるのではないかという危惧の念をいただきます。

司会 行政の手法というのは、往々にして非常に短い時間の中で議論をして決めることがあり、その後うまく修正ができれば、それでもいいのかもしれませんが、しかし、何か、悪いまま残ってしまった例を見ないでもありません。

フォシェ先生は、今の中医協の議論の進め方やそのスピードについては、どのようなコメントをお持ちでしょうか。

フォシェ 政治的な議論の側面ということに関しては、製薬産業は単にステークホルダーの一員として存在しているだけで、それぞれ企業が活動を行うその国のルールに従ってやっていくべきだと考えております。

ただ、私も今、鎌江先生がおっしゃいました意見と全く同じような印象を受けております。まず、手法のディスカッションありきという印象があります。そうではなく、やはり全体的なビジョンや、その全体図や、何を、いつ、どのように、そしてどれくらい速いスピードでやりたいのかということ、ある程度全体図を描いてから手法の話をすべきだと考えます。

また、例えば価格のような個別の要素よりも、こういったデータをどのような目的で収集し、どれくらいの期間で行い、誰が収集するのか、どのような専門家がそのデータを解析するのか、どのようなガイドラインに基づいて行うのかというようなことを確立するべきでしょう。

例を挙げますと、日本において医療データが収集できるような環境づくりが肝要だと考えております。例えば社会保障番号であるとか、国民の一人ひとりにある固定の番号をつけて、誕生から死亡するまで一つの番号で管理することで、コホート調査が可能になります。既存のある治療方法を受けた人々を対象にデータを収集することができて、そして新しいイノベーションの評価ができるようなデータを収集することができるようになります。これはあくまでも一例ですが。

◎◎日本型 HTA 導入を目指した議論を

司会 中医協での協議について福田先生からお話がありますか。

福田 中医協の場では、過去何年かのうちに、費用対効果のようなシステムを考えたらどうかという指摘は何度かされていると思います。ただ、今まで具体的な形にはなりません。今年度、協議会の下に費用対効果評価専門部会という、この問題について重点的に議論をする専門部会ができたこと自体は、まず意義があることではないかと思っています。

更に、その構成メンバーに、医薬品や医療機器の産業団

体の代表の方も専門委員として参加されているのは、やはり意義があることではないかと思います。私も参考人として参加して、経済評価の手法や諸外国での状況などをご説明しております。しかし私も、当初は年4回ぐらいの開催と伺っていましたが、既にもう4回終わってしまいました。これで今年度は、もう会議はないということはなく、もう少し集中して、回数を重ねて議論していこうという方針になってきているのかなと理解をしています。

といいますのは、議論すべき課題はいろいろあって、そもそもどう使っていくのか、どういうやり方をするのか等、事細かなガイドライン設定まで行くのか分かりませんが、少なくとも中医協あるいはそういう専門部会で、大きな方針を議論をする必要があるのではないかと思います。

かといって、これも専門部会の第1回目のときに森田先生から、「こういうものもやはり議論は必要だけれども、逆に、議論だけをいつまでもして、先に進まないというのはいかがなものか」という趣旨の発言がありましたので、むしろ、何年もだらだらとやっていくのではなく、ある程度の時間は必要ですけれども、集中的に回数を増やして議論をしていくべきだと思っています。

司会 イギリスやドイツでは詳細なガイドラインが多数存在しています。わが国においても、実際に医薬品評価を行う前には、どのぐらいの詳しさが必要か議論がありますが、やはりガイドラインは、中医協の場で考える必要があると、鎌江先生はお考えでしょうか。

鎌江 ガイドラインは必須ですね。ガイドラインがないところでパイロットスタディーもあり得ません。ただし、パイロットスタディーを行う段階では、ガイドラインはまだ最終版として固定しなくてもいいかもしれません。

さらに、パイロットスタディーに何をみだすのかということ、これを明確に議論しないでスタディーを行っても、ただ何かやってみましたというだけに過ぎず、果たして学問的にも行政においても意味があるのかどうか疑問に思います。政治的な意図から、形式的にでもパイロットスタディーを行ったほうがよいのであれば、最終的にはそれなりの意義はあるのだと思います。したがって、政治的な意味なのであれば、ガイドラインがなくてもいいということになるのかもしれません。しかしそれでは、HTAの基にある医薬経済学の客観性、科学性あるいは透明性の担保は十分実現されませんので、基本コンセプトをないがしろにしたままになりかねません。

そこはやはり、ガイドラインやパイロットスタディーの意義を明確に規定した情報発信を行いながら、中医協の部会は議論を進めるべきであろうと思います。

今後の中医協の議論に期待したいのは、先ほどフォシェ先生も指摘されていましたが、医療技術評価のシンポジウ



鎌江伊三夫

ム（『「医療技術評価」国際シンポジウム－世界で急拡大する「医療技術評価」を展望する』、2012年9月6日、東京大学公共政策大学院・主催）に参加した海外のパネリストから指摘されたように、「日本型の、あるいは日本に適したHTAの導入をもっと考えた方がいいのではないか」ということです。ガイドライン一つとっても、NICEガイドラインのコピーだけでは十分ではなく、「欧米とは少し違う形ではあるが、50年も前から確立している国民皆保険制度の中で、いろいろな意味で作りあげられてきたものを大事にした、『日本のHTAシステム』というのがいいのではないか」ともご意見をいただきました、その点です。

日本での議論において間違いがちなのは、日本にはHTAがないからこれを慌てて入れなければいけないという予断で事を進めることです。それが私の最初にお話した、第1のポイントの大事なところですよ。

行政としてのHTAと学問としてのファーマコエコノミクスを区別すべきだというのは、そこがまさにポイントで、例えばイギリスのシンクタンクのオフィス・フォー・ヘルス・エコノミクスのエイドリアン・タウゼ教授がワシントン大学から世界的に影響のある研究報告を出しましたが、彼のHTAの定義から言うと、広義の意味のHTAは日本に確実に存在しています。

ですから、広い意味でHTAの行政組織には、PMDAでも、その中に入ってきます。ただ、学問としての医療経済学が日本のHTAにうまくリンクされているのかという

ことになる、否と言わざるを得ません。HTAの用語の定義によりますけれども、海外の主たるHTAの行政組織は医療経済学の手法を導入していることが多いため、HTAの問題が医療経済学と密接に関係して議論されます。そういう面では、日本にはHTA、少なくともHTAの行政組織が存在しないという言い方にもなるということなのです。

ですから、基本的には日本は自信を持って、日本には日本流の立派なHTAは存在すると考えてもよいと思います。しかし、学問としての医療経済学とのリンクが曖昧なままなので、その辺の道筋を的確につけていくのが中医協の部会の本来の役目であろうと思います。

その点、ガイドラインにしても、日本が今のこの時点で先進国の中では医療経済学の発達が遅れていることは間違いないので、新たに導入するのであれば、この機を利用して欧米社会に向かって、新しいメッセージを発信したいものです。

欧米社会もこの10年ぐらいでさまざまなHTA組織を設立しましたが、フォシェ先生がおっしゃられたように、医療費のコントロールはうまくいってないのが大半です。医療費が増えてしまったという例もあります。さまざまなデータの問題、人材養成の問題、いろいろな教訓があるわけですよ。この教訓をよく理解して、ある程度乗り越えながら、日本型のHTAシステムをうまく生かせる方法を見出すにはどうしたらよいのかということを、中医協の部会から打ち出していく議論が欲しいと思います。

「アメリカ“では”こうだ、ヨーロッパ“では”こうだ、だからコピーするのがよい。」「いや、お金を削るためにコピーするような拝政主義は駄目だ」といったコピー論と攘夷論の対立軸でしか議論ができないのであれば、それはあまりに後発部隊としての見識がなさ過ぎると思います。

ある意味で、今は日本にとってチャンスです。新しいコンセプトなり、手法なり、世界のリーダーシップがとれるビジョンをHTAに関して出していくというチャンスです。例えばEFPIAから見て、なるほど、日本が日本流の優れたHTAの方式を導入し世界の手本になると認識されるような、そういう方法をわが国が模索すれば、学術立国、技術立国としての国際的なプレゼンスが高まるという面も出てくるだろうと思います。

司会 フォシェ先生、中医協でガイドラインの議論が始まれば、EFPIAとしては積極的に意見を出して、透明性の高いいいシステムすることに関わっていただけると理解してよろしいでしょうか。

フォシェ はい。EFPIAはJPMA、PhRMAと歩調を合わせてシンプルなメッセージを出していこうと努力をしています。HTAについて業界団体が互いに異なる意見を

提供するのは望ましくないと思っています。

鎌江先生がおっしゃったように、基本的には今ある日本の環境のいいところを利用して、そこから積み上げていくということが大事だと考えています。他国の真似をするということであれば、適切なものが導入されない可能性もあります。

また、単に海外に対してメッセージを発するというのではなく、日本の患者さんに対して、また医療従事者・専門家に対してもメッセージを発して欲しい。そういったディスカッションをすることが重要であると思っています。

日本には市販後調査 (PMS) という非常にユニークな制度があります。そこから、製品のライフサイクルのある一定期間において、患者に使った場合にどういう結果が出ているかという、患者データも多く集めることができます。このような特徴をもう一度よく見直すことが大事ではないでしょうか。

単に HTA ありきではなくて、こういったユニークな制度があるわけですから、それをベースにして科学的な観点からパイロットスタディーを行う必要があると思います。価格設定の観点からではなく、科学的な観点からパイロットスタディーが行われれば、企業の学術部門、あるいは大学などのアカデミアも協力をすると思います。ここから、議論がどんどん活発になることが望ましいと思います。EFPIA はこの目的のためには専門家の協力を惜しみません。

司会 福田先生、ガイドラインについて、当然他国のコピーにはならないとは思いますが、その必要性和、論議は今後どのように進んで行くのでしょうか。

福田 HTA なり、その中の医療経済評価を政策に取り入れていこうということであれば、中立的で公平な評価、透明性の高い評価が必要になりますから、先生方ご指摘のとおり、ガイドラインは必須だと思います。しかも、単に研究者だけで議論するのではなく、行政や企業も含めて、どういう形がいいかを議論して、最終的なものを決めていく必要があるのではないかと思います。

ただ、それにしてもこれを何に使う、どの場面で利用していくという部分が決まらないと、それによってやり方が変わってくる場合もありますので、まずは先に大枠の議論が必要だと思っています。

一方で、ガイドラインそのものは最終的には必要になってくると思います。一応、23 年度にわれわれが行った研究班においては、そもそもガイドラインを今後議論していくのであれば、こういうところが論点になるのではないかなというように、整理はさせていただきました。

そのとき国内では、鎌江先生や他の先生方から幾つかの

ガイドライン案が提案されていますし、あるいはもちろん諸外国のガイドライン等も参考として議論しました。もう一つ重要だと思ったのは、今の日本の制度を踏まえて、日本の特長を生かす形で考えるべきだということです。例えば、今も薬価制度の中で類似薬効比較をしますが、それをうまく整合させることで、利用できる仕組みがあるかと考えています。そういう意味では、海外のそのままのコピーではなく、日本独自の、今の制度に合った形のガイドラインを考えていくのが良いのではないかと思います。

司会 EFPIA Japan は 4 月 20 日に、「医療技術評価 (HTA) の導入に関する欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan) の見解について」というステートメントを出されています。

その中で、外国の状況について紹介がありました。オーストラリア、カナダ、イギリス、あるいは最近のドイツでは、価格決定のために HTA が使われたり、あるいは革新的な新薬へのアクセスを制限するために使われたりして、患者さんの懸念を増長していますと記されています。一方、欧州各国の中にはスウェーデンやスイスのように、患者さんの革新的医薬品へのアクセス改善を目指す、異なったシステムへと変貌しつつある国もあることを紹介して、まだ変革の途中という表現をされています。

中医協の資料で紹介される外国というと大体、英・米・独・仏・オーストラリアという場合が多く、ここに紹介されているスウェーデンやスイスの資料はあまりありません。

フォシェ先生、スウェーデンやスイスはどのようなやり方を目指しているのか、教えていただけますか。

フォシェ お二人の先生方のほうがこの事例についてはより深くご存じだと思いますが、この 2 国の事例を簡単にご紹介します。

ポジションペーパーにこのコメントを入れた際に示したかったことは、欧州内外を含めて、各国ではさまざまな取り組みが現在行われていて、それらは全て同じものではないということ。そして、もう一つの背景として、日本にもまたそのような日本独自の、例えばスウェーデン型やスイス型、あるいはアメリカ型、イギリス型ではない、独自の日本型のものを作る能力があるということも示唆したかったわけです。

また、ここにスウェーデンの名前を挙げているからといって、決してこれが参照すべき制度だという意味もありません。なぜならば、スウェーデンは、国内でいわゆる革新的医薬品の研究開発には注力しないという、ニュージーランドが何年か前に決めたような政策と同じことを進めているわけです。ですから、低価格の、患者がアクセスができるような薬剤を国民皆保険の下で提供していこうという

ポリシーが変わっています。その中で HTA が取り入れられています。これはやはり後発医薬品の使用を更に拡大するという目的を持っています。

また、費用対効果の評価の責任を、中央政府ではなく、各地方自治体のレベル、例えば区であるとか県に任せているので、システム自体としてはかえって複雑化しています。その結果、確かに医療費はコントロールできていますが、革新的なものに対するアクセスが遅れてしまい、また、以前は生み出していた基礎的な研究成果である革新的な医薬品も、もう国内では生み出されないという状況です。

一方スイスですが、こちらはご承知のように2つのメガファーマのホームである国です。そのため、スウェーデンとは状況が違い、かなり新薬を生み出す研究開発にも投資をしています。そのため、スウェーデンに比べればもっと総合的な、いろいろなものを含めた政策にしようとしている途上ではありますが、まだそれが完了したわけではありません。昨年末に興味深いコンセンサスペーパーが発表されました。その中に、例えばガイドラインやあるいは手法や、そういったものに患者の意見も加味して、患者の観点からの評価を加えるということが書かれておりまして、これは非常に興味深い内容だと思います。

といいますのは、イギリスのような国ですと、例えばオンコロジーの分野などでは、患者の声とはかけ離れた政策になっていることが非常に大きな問題点として指摘されております。スイス当局としてはこのような声に注意を払って、もっと合意形成型のコスト対効果の評価ができるような、そしてそのために医療経済学的なデータを評価の中に盛り込むような制度にしようとしているのだと思います。

このような合意形成型のアプローチというのは、HTA の導入を考えるときに、非常によい参考になるのではないのでしょうか。

しかし、日本にスイスのやり方を真似しなさいと言うつもりはありません。ただ、いわゆる政治家だけ、あるいは経済学者だけの観点ではなく、患者、医療提供者、医薬品業界といった全てのステークホルダーを巻き込んだ形で、合意形成型でやっていく観点を取り入れるというのは意味のあるものだと思います。

司会 ご説明いただきありがとうございます。

中医協の委員会の4回目で、一応、日本版の QALY を使ったらどうかというお話になったようですが、日本の疫学的データの収集具合や、あるいは医療費に関するデータベースの準備の状況などを考えると、新薬に日本版 QALY を適用するというのはかなり大変なことではないのでしょうか。日本の患者というのは、薬事法の承認がされてから2か月ぐらいで大体保険でも使えるようになると多くの方は思っています。「いい医薬品が承認された。もう

ちょっと待てば病院でも使えるようになる」と思っているようです。このような状況で、日本版 QALY を新薬に用いていくというのは難しいような気がします。

◎◎ QALY の導入には慎重な対応が必要

鎌江 その日本版 QALY という言葉を、私としては理解しにくいのですが、中医協の部会でその議論があったとすれば、それがどのようなものであったのか福田先生にお聞きしたいと思います。

日本版の HTA システムを語るとき、私は日本型準バリュー・ベースド・プライシング (Value-Based Pricing) という言葉を使っています。現在の日本の薬価制度、特に加算を主体とした値付けの仕方は、今、イギリスが概念として表明しているバリュー・ベースド・プライシングを先取りして、日本の制度に既に組み込んだものであると考えています。ただ、最初にお話ししましたように、そこに医療経済学とのリンクが十分ないために一応、英語ではクワジ・バリュー・ベースド・プライシング (quasi Value-Based Pricing) と呼んでいます。そういう意味での日本型もあると思います。

しかし、QALY を日本型にするというのは、いったい何なのか。日本人の効用値を使うという意味で日本型 QALY と言うのであれば分かりますけれども、QALY の定義そのものを日本風に調整することなのでしょうか。であるとすれば意味が不明になります。私に理解不足があるかもしれませんが、その辺を先に明確にして頂ければと思いますが、いかがでしょうか。

福田 確かに、前回の中医協会議で日本版 QALY という言い方をされている先生方がいらっしゃいました。しかし、私の認識も全く先生と同じでして、QALY のコンセプトそのものは、例えば日本版とか、イギリス版とか、オーストラリア版というようなものはないと思います。

鎌江 QALY はサイエンスに基づくものですから、普遍的なものですよね。

福田 はい。コンセプトは同じです。ただ、確かにその QALY で使う QOL 評価の方法として、日本版のツールがあるとか、幾つかのやり方があるというのはそのとおりでしょう。日本独自の QOL 評価ということはあるかもしれませんが、QALY そのものを日本版とか英国版とか称するものではないと思います。

多分、この言葉を委員の先生がお使いになった背景としては、例えば QALY では反映されないような価値も評価の要素に組み入れるとか、そういう日本独自の価値観を持って取り組むべきだというご指摘で、日本独自の HTA の考え方を取るべきだという趣旨だと理解をしています。

鎌江 強い思いがその言葉になっているということ

しょうね。

福田 なぜか報道でそのように取り上げられて、皆さん日本版 QALY というものがあるのかなと思われるとちょっと困るなと思いましたが、話の流れから、私はそのように理解しています。

鎌江 分かりました。それで理解できました。

追加的にコメント致しますと、仮に QALY を利用するという話になる場合に、日本版をどのように作成するかが問題です。QALY は、基本的に平均生存年数の重み付けを QOL で行いますので、そのデータが必要になります。日本版の QOL データを日本人からとるためには、日本で開発された QOL 尺度か、または西洋で開発された尺度の日本語版が必要になります。しかし、いずれの場合でも尺度の日本での妥当性の検証は容易な問題ではありません。

というのは、QALY をもし用いるのであれば、QALY の重み付けとなるその重みは、統計学的で言う間隔尺度であることが保証されなければなりません。その間隔尺度性の検証は必ずしも容易ではありません。例えば、臨床では患者さんの臨床状態を 1 点から 5 点ぐらいを割り当てた 5 つの状態に分類し、目がかゆいと 2 点とか、さらに痛いとは 3 点というような QOL 評点がよく行われます。その QOL 評点をそのまま平均生存年数の重みとして用いれば QALY が計算でき、それが日本版の QALY になると考えると、完全な理論レベルでの間違いを犯すことになりかねません。なぜなら、その QOL 尺度が間隔尺度でないこともあり得るからです。西欧では、その間隔尺度性が保証される QOL 評点として EQ-5D が開発されました。その日本語版も既にあります。間隔尺度性を保証する日本版 QOL 尺度を日本独自で開発することも不可能ではありませんが、非常に時間と労力がかかりますので現実的ではありません。したがって一般的には、QALY 算出のためには EQ-5D 日本語版を使うことを基本にすべきでしょう。その場合、日本人から測定した QOL データを使つての QALY 計算ができますが、それは日本版 QALY とは言えないと思いますね。

むしろ QOL の測定問題よりも、QALY を計算する場合に問題となるのは、生存年数に関する日本の疫学データがどこまで利用可能なのかということです。新薬であろうが医療機器であろうが、その介入によって得られる余命の利得が、臨床試験データだけで果たして十分に得られるかが問題となります。明らかに短期の臨床試験の範囲では不十分であり、長期の生存年数推定のためには、市販後の疫学データが必要となります。日本人のさまざまな疾患の間隔尺度性が保証される QOL と生存年数に関して、信頼できるデータベースは存在していないのも問題です。さらにデータの問題は利用可能性や間隔尺度性だけでなく、エ

ラーや外部妥当性とかの統計学的問題など、さまざまな技術論上の検討が必要になります。

ですから、QALY はもともと汎用性のある、多くの疾患にまたがった共通の尺度を提供するメリットがありますが、外部妥当性が必ずしも検証されていないようなデータで重み付けして QALY を算出してしまいますと、見かけ上の数値は得られますが、QALY が本来もっている汎用性が保証されない心配がでてきます。QALY を導入するにしても、そこはかなり慎重に進めるべきです。

司会 有効性や安全性に関して、日本は外国のデータを使うということに関しては非常にコンサパティブだと思います。

以前、日中韓の大臣レベルの会議の中で、遺伝的に一番日本人と似ているであろうと想像される韓国、中国について、民族差の調査をやりました。その結論は、当たり前と思いますが、差があまりない医薬品もあったし、差がある医薬品もあったそうです。ある時期、厚労省と PMDA は、韓国人データと中国人データを、日本人のデータとほぼ同じように扱えるというような東アジアで一つの試験を行ってはどうかという構想があったと言われていますが、そこでやってみたところ、実はそうではなかったということです。

非常にコンサパティブだと思いますけれども、単に遺伝的な内因的な影響だけではなくて、食べ物とか医療制度ですとか、あるいは医療のプラクティスの違いという外因的な要素も指摘されています。欧米を含め、多様な人種の人達と一緒にやるグローバルな試験と比べて、東アジアだけの試験でもハードルを下げません。

それなのに HTA に関するデータだけ、そこを飛び越して持ってくるというのは、おそらくそういう批判がすぐに出てくるだろうという感じがします。

鎌江 確かに、英国流の HTA に沿って閾値の考え方を導入するとすれば、その閾値データが英国の借り物でよいのか議論のあるところかと思います。NICE による「ポンド/QALY」という指標、例えば 2 万ポンド/QALY を費用対効果の良否を判定する閾値とする考え方は、英国 NICE により確立されました。しかしキャメロン政権は、閾値法一辺倒ではいろいろな意味で問題もあるので、パリュース・ベースド・プライシングという価格決定問題に対して、新たに 2014 年より取り組もうとしています。そのような英国の閾値法への見直しが起こっているときに、わが国が今まで蓄積してきた日本流の HTA のあり方、これは加算などを中心とした薬価システムだと思いますが、それを否定して、英国流の閾値法を踏襲するだけの方法を取り入れるのはいかがなものでしょうか。

コスト/QALY のような閾値の手法を用いていなかった



福田 敬

わが国が経済評価を導入しようとするとき、まず先に問われなければならないのは、閾値法を使うのかどうかだと思います。使うのであれば、閾値の適用をどのようにルール化するのが問題となります。英国流の閾値法を単純に踏襲しないのであれば、私が先ほど述べましたような、日本型準バリュー・ベースド・プライシングという形で、いわゆる有用性加算や画期性加算などの部分に医薬経済学の考え方をリンクしていくことを検討しなければなりません。

どのように定量的な算定方式を新たに作るかはこれからの議論なので、方法論上の難しさがあるとは思いますが、現行の画期性加算や有用性加算ではQALYは要求されていません。有効性の証明には伝統的な臨床指標が用いられますので、QALYにこだわらず費用対効果に基づく加算算定ルールを模索するのが、合理的帰結のようにも思えます。

もちろん、「円/QALY」という形での理論的な組み立てがあっていいとは思いますが、いずれにせよ、加算要件として費用対効果比を利用するのであれば、必ずしも閾値法でなくても構わないのではないのでしょうか。

それは価格決定法のアプローチになります。価格決定法の場合は、必ずしもQALYに拘泥しなくてもよいので、臨床試験に基づいてのデータが利用しやすいでしょう。

ただ、QALYでない場合は汎用的な臨床指標になりませんので、ドイツのIQWiGが提起したような個別の疾患での議論が必要になりますね。

この話題は日本流のHTAを考える場合に重要だと私は

思います。ドイツは、IQWiGの経済評価ガイドラインを策定したときに、効率的フロンティアという、閾値法ではない方法論を示唆しました。

ソフトランディングで日本のHTA導入を日本風のやり方で行おうとする場合、例えば、ドイツのようなQALY主義でないアプローチも検討に値すると思います。最近のフランスHASでの経済評価導入でも、ドイツと同じく、必ずしもQALYを用いない保険価格算定の新方式が提案されています。

そういう議論がほとんどないままに、わずか3回か4回ぐらいの中医協の部会の議論で、いきなり、まあQALYでしょうねという話になっていくのであれば、基本的には経済評価導入は重要と考えている私から見ても、政府の進め方はやや拙速に思えます。

司会 おそらく、日本でQALYを要求されると、新薬にもし使われるのであれば、今までの第I相～III相試験に加え別の試験が必要になるのではないのでしょうか。ただ、いろいろな加算のときの方法を、薬剤経済学に基づいて学問的にフィットしたものにしていくためであれば、余り多くのデータは要らないかもしれません。

ヨーロッパではEMAがこのデータでOKだと言ったのに、HTA機関がこれではデータが足りないと要望したため、その後1年ぐらいかけて試験が行われたようです。EMAサイドではこのことを非常に問題視し、それはおそらく患者さんへのアクセスが大幅に遅れるという理由だと思われる。特に抗がん剤などでその例が多いと思います。

日本において、例えば新薬の価格決定にQALYを適用するという点について、フォシェ先生はいかがお考えでしょうか。

フォシェ 先ほども申しましたように、日本は、現行のシステムの中で成功しているものに関しては、しっかり守っていく必要があると思います。

一度承認が下りてから実際に薬価収載されて患者さんの手に届くのには大体3か月、平均ですと約2か月（60日）です。これは極めて例外的な数字です。欧州では、今言われた理由やそれ以外の理由で、例えば6か月とか1年、患者さんの手に届くのが遅れてしまう。NICEの場合では、4年などというのもありました。こうしたことは、決して日本では起こってはいけないと思います。

それでなくても、今までいろいろな理由から日本では医薬品のアクセスが遅れてきました。システム、規制や企業の事情がありました。そして、ハーモナイゼーションやよい対話を持てて、やっとその遅れを取り戻している状況になってきたのに、このようなことでまた遅れるようなことになってはいけないと思います。

先ほどのQALYに関するディスカッションに関して、

私も意見を述べたいと思います。

QOL の評価は、日本の状況に合わせて必ず必要だと思います。現在、日本では高齢化が進んで、状況が非常に大きく変化しているときでもあります。QOL という文脈でどう評価するかということは、経済的だけでなく政治的な問題になります。ちょっと考えてみても、日本で 65 歳以上の 20% 以上は現在就労しております。私の母国フランスではたった 2% ですから、おそらくその両国におけるワーキングライフの意味合いが違うのだろーと思います。

また、医療全体が非常に大きく進歩して、100 歳まで生きられるという時代になれば、QOL の評価の仕方そのものも、新しい算定の仕方、新しい見方で評価をしていくことが必要になってきますし、それもまた複雑性を帯びてきます。このように複雑なトピックではありますけれど、やはり、単に理論に偏ることなく、実際面も重視した上で作っていくべきだと考えています。

既に日本では EPPV (市販直後調査) や PMS (市販後調査) といったシステムがあるので、こういったものをうまく利用すればデータは十分収集できると思いますし、それと並行する形で、必要ならばその場合には医療経済的なデータも作り上げ、日本独自の HTA システムへと至ることができるのではないかと考えます。

司会 ありがとうございます。

費用対効果についての専門家があまりおられない中で、中医協における検討は少々ネガティブな印象を抱いてしまいますね。これから何回かの会議があつて、必要な修正なり条件付けが行われるのでしょうか。

鎌江 QALY を用いた費用対効果の指標の導入から始めるというのは悪いことではないと思います。

ただ問題は、とらえ方の深さの問題ですね。QALY の利点欠点を理解することなく、機械的に計算すればそれでよしとしてしまうと、それはほとんど費用対効果評価の自己否定につながるおそれがあります。日本がこれまでの伝統的な自らの HTA システムの利点を自己評価できないままに NICE の閾値法を単純にコピーしてしまうようなことは、おそらくヨーロッパの深い洞察力を持った研究者から見ると、愚かなことのように見えるかもしれません。そうならないような学術立国日本の実力を発揮してもらいたいところです。

ドイツの例がそのままいわけではありませんが、現在、ドイツやフランスは経済評価の方法をめぐってイギリスと論争しています。ですから、それらの論争に日本も加わるような国際的情報発信が欲しいというのが、私の個人的な意見です。

司会 日本の行政の悪いところでしょうか、何かキーワードのようなものが出てきて、みんなでこれをやればい

いんだというような流れになることがよくあります。

おそらく閾値法というのは、日本の国民性やあるいは今まで享受してきた皆保険のメリットから考えると、ほとんど採用不可能ではないかと個人的には思います。

福田先生のご意見はいかがですか。

◎◎わが国の患者さんのデータを反映した QOL 値を求める

福田 専門部会では、QALY で行くという合意はされていないと、私は認識をしています。しかし、大きな可能性の一つだとは思っています。

仮に日本で QALY を算出すると想定したときに、最初の話のように今の治験に加えて、HTA のために新しいフェーズを組み込むということは難しいと思いますし、適切ではないと思います。これはフォシェ先生もおっしゃっているとおりで、これ以上に遅れる、そこに時間をかけるといのは、現在の日本では容認されないと思います。もし新たな試験等が必要であれば、あくまでも市販後に調査をしていく臨床試験を組むなりをやつて、それを市販後のどこかの段階で、例えば価格などに反映させるという考え方はあり得ると思います。今の制度でも、例えば再算定のときに“真の臨床的有用性の評価”などという手順が仕組みとしてありますので、そういうところで適切な市販後の研究や臨床試験などの結果を反映させる考え方はあると思います。しかし、導入段階でそれを新たに必須とするのは難しいことだと思います。

QALY 自体の算出のためには、一つは生存期間というか、その状態でいる長さ、もう一つは QOL の評価値という、二つの軸があります。ある疾患の状態の治癒までの期間や生存の期間という長さは、治験段階でのエンドポイントがサロゲートポイントです。最終的な死亡まで追っていない治験はもちろんたくさんありますので、それを元に将来を推計するのであれば、基本的にその時点でできるのはモデリングを使って推計をすることです。なるべくそれが妥当であることを、既存の疫学データ等で証明していくということになると思います。

問題は QOL の評価値です。現在のところ、日本ではデータが非常に少ないので、個人的には、できれば日本で調査した、日本人の考え方を反映した評価値が必要だと思います。ツールは海外のものを日本に応用して、日本語版を作つて妥当性、信頼性を確認したものであつても、基本的には日本の患者さん等で調査をしたデータを使うべきだと思います。

今日、新薬の開発等を行っているのはグローバルな製薬企業ですから、治験も国際共同治験等で進めていると聞いています。諸外国では、幾つかの国で当初から QALY の

データ等を要求されるところがあり、最近では治験段階でも QALY の評価を取り入れてきていると伺っています。国際共同治験を共通プロトコルで進めるのであったら、日本で患者さんをリクルートするときに、日本で適用するときにも、同じ調査票を入れていただければいいと思います。

今後、ある程度、方針が示されれば、諸外国で進んでいる治験と合わせて、日本でも QOL 調査を治験段階でも入れることができるのではないかと思います。やはりそれは難しいのでしょうか。

鎌江 今の QALY の問題で福田先生にお伺いします。

イギリスのエンド・オブ・ライフの評価では、がん治療における患者さんのある種の社会的差別を避けたいという行政当局の意図から、QALY を計算する際の QOL 値の調節を、実際にやりましたね。ある一定条件が成り立つところでは、がんの状態であっても健康と同じ“1”と見なしたかと思えます。

その結果、イギリス国内でもエコノミストも含めて賛否両論が起きましたが、考え方によっては NICE の閾値法、ポンド/QALY の理論的基盤を NICE 自らが壊してしまったようなところもあるかと思えます。

がん患者さんの QOL だけを“1”として計算するならば、他の疾患との比較可能性が QALY から失われてしまう懸念があり、これは QALY の汎用性に反するからです。

そのようなことを考えると、日本も QALY を使った指標をとりあえず公式に認めるとしても、英国で見られるような QALY 値調整の問題が遅かれ早かれ起こってくるのではないかと思います。部会ではそのような議論が出ているのでしょうか。

福田 今のところはまだ出ていないですね。

鎌江 そうですか。今後の新しい医薬品の大半が、がん対象の高価な分子標的薬になるといわれる状況では、QALY の調整の問題は避けて通れないでしょうね。

今の欧米の動きで興味深いのは、個別化医療や再生医療といった新たな医療イノベーションを提供する技術に対する評価では、従来の経済評価のガイドラインでは不十分ではないかとの議論があることです。どのような新しいガイドラインにすればよいのかのコンセンサス形成はまだないようですが。

個別化医療や再生医療は別枠扱いにして、ガイドラインも別にするという考え方もあるようです。この別枠ガイドライン問題は、わが国が何のために HTA をどこに導入するのかということと不可分な話だと思います。そこを見据えて進めないと、西欧の経済評価ガイドラインを取りあえず 10 年遅れて日本に輸入ただけで、日本のオリジナリティがない話になりかねません。

中医協の各委員には、そういう問題があることを十分認

識して頂いて、日本での QALY の取り扱いやそのガイドラインを決めてもらいたいですね。その辺の福田先生のお考えはいかがでしょうか。

福田 先ほどのイギリスで取り入れたエンド・オブ・ライフについての基準は、鎌江先生のご指摘のとおり、要は終末期のステージの患者さんについては短期間の延命、3 か月以上という条件はついていますけれども、その延命期間の QOL は健常人と同じ価値があるということで“1”にして計算していいということになっています。

これを見たとき私は、イギリスが自ら QALY を否定しているように見えたので、どうなのかなと思いました。例外事項がないと否定されてしまう具体的な医薬品が幾つも出てきたので、やむを得ずというのは言い方が悪いかもしれませんが、それだけは認めるということで入れたのだと思います。

私の理解しているところでは、NICE もやはりそのやり方が適切だとは思っていないと思います。QALY の計算方法を変えること自体はやるべきではないと私も思いますし、多分 NICE もそう考えているのではないのでしょうか。今後、鎌江先生がお話されているバリュー・ベースド・プライシングに、2014 年は移行するようなことをイギリスでは言っています。その中で、例えばコスト/QALY のような形で出した閾値的なもので判断しているところは、疾患の状態等に応じて閾値を変えるということを言っています。

その中に、一つがバーデン・オブ・イルネス、もう一つがセラピューティックイノベーションと言っていますので、おそらく、先ほどの再生医療やパーソナライズドメディシンといった非常にイノベーションの要素の高いものについては、おそらくその許容範囲が大きくなるのではないかと思います。また、終末期等を含めて、今の一律 3 万ポンドという閾値を少し変えていくのではないかと思います。

日本で今後、仮に QALY を使って「コスト/QALY」で出したとしても、全ての疾患、全ての状態で一律の、仮に閾値のような形を使うとしたら、それを使っていくのかどうかは、今後の議論の余地があると思います。日本も状態によっては、変えてもいいのかもしれない。

一方、ガイドライン中に閾値を明記しているのは、イギリスのガイドラインだけだと思います。その他では、その部分は明記されずに判断をされています。そこは HTA の考え方の中で、アセスメントと言われる要素とアプレーザルと言われている要素を分けて考えるというのが、一般的です。

司会 閾値は、ガイドラインの中に入っていないのですか。

福田 入っているのはイギリスだけだと思います。

アセスメントの部分は、決められた手順できちんと学術

的に正しい方法、標準化された方法で評価してもらって、むしろ、アプレーザルのところでは、出た結果をどのように判断していくのかというところになると思います。どちらかというと、「コスト/QALY」で出た値をどう考えるかというのは、アプレーザルに入ってくると、私は認識をしています。そういう意味では、アセスメントのガイドラインになくてもいいのではないかと思います。むしろアプレーザルの部分で「コスト/QALY」のようなものを仮に出すとしても、それはあくまでも一つの要素であって、疾患によっては状態、それがなくなるときの期待予後やあるいはその他幾つかの要素、場合によっては疾患の希少性といったものの勘案した上で、判断をしていくべきでしょう。

ただ、ある程度の透明性は必要だと思いますので、どういふところを評価していくというアプレーザルのための要素を明確にすることは必要だと思います。しかし、経済評価をするためのガイドラインとは別にあっていいと思うし、その実施するところもアセスメントとアプレーザルは別でもいいのではないかと考えています。

◎◎ HTA 制度では個別化医療や再生医療をどのように評価すべきか

司会 フォシェ先生に2点、お伺いしたいと思います。

鎌江先生が挙げられた、いわゆる個別化医療やイノベーションな再生医療といった医療は、HTA の評価において、いわゆるイノベーションの促進というような観点から別枠で考えたほうがいいのかということ。

例えば、再生医療で自家培養表皮の製品がありますが、この製品を審査するときも、別にあのような技術を使わなくても、いわゆる臀部や他のところから持ってきて自己移植で十分である、培養なんてしなくても、わざわざ再生医療の手法を使わなくてもいいのではないかと議論もあったように聞いています。

もちろん、非常に危険な技術であればそれは駄目ですが、安全性と有効性のバランスが既存の技術よりはるかに優れていなくても、同じぐらいであれば、世の中に出すことでその技術が伸びて、改良がどんどん進んでいくことになる。それを審査段階で駄目としていると、なかなかイノベーションな製品が世の中に出ていかないように思います。

フォシェ先生、個別化医療や再生医療というものを、イノベーションを促進するという観点から HTA の世界で別枠に扱うというお考えについてどう思われますか。

フォシェ 明確な将来像やビジョンといったものがない状態で、現在は、制度の詳細な部分を議論しているような状況ではないかと思います。まだ制度として完全になり得ていないにもかかわらずです。

そういう状況ですので、そのご質問は非常に適切なもの

だと受け止めました。製品あるいは治療領域が全部で10、20あるいは30ぐらいある中で、さっきおっしゃったのはそのうちの一例だと思います。

科学的なイノベーションを評価するということですが、例えば、がんの個別化医療の場合では、今までの一般的な高血圧薬といった医薬品のようにではなく、もっとよりよく患者さんの状態を知り得た上で治療ができるようになり、この分野では、診断薬などのキットと組み合わせることによりその薬剤を正しい標的となる患者さんに使用できるようになります。それには、やはりそれに特化した特異的なイノベーションの評価の仕方が必要になってくると思います。

いわゆる希少疾病やオーファンドラッグといった医薬品に関してもそうですし、また、予防のための薬剤、ワクチンなどがその範疇に入りますが、そういったものの承認上市時におけるデータ収集というのは、非常に難しいものがあると思います。

ですので、日本版 HTA を導入するのであれば、その各カテゴリーの特質や患者さんの状況などを鑑みて対応することが肝要です。例えば一つどこかが駄目だからということで、システム全体を阻害することがあってはならないと思います。

それから、政府から既に医療イノベーション5か年戦略が発表されていますが、その中で、やはり基礎研究にもっと焦点を当てていこうという方向性がしっかりと打ち出されています。具体的にいえば、iPS細胞や幹細胞の研究ですが、そういった基礎研究分野がどんどん進んでいき、それによって科学立国を目指すことならば、医療分野も、あるいは医療制度も、それを後押しできるようなシステムを導入していくべきだと考えます。

司会 もう一つ、福田先生のお話からです。国際共同治験が増えて、日本もそれに参加をする割合が増えています。その中で、ヨーロッパや一部アメリカのプレイヤーの要請で QOL に関するようなデータを取り始めている。日本も同じように共同治験に参加することによって、承認申請時にそのようなデータを提出できる可能性はないのだろうかと思われました。

フォシェ 先ほど福田先生が話されたコメントは非常に合理的だと思います。グローバルの開発プログラムに日本の施設がどんどん参加するようになっております。これはいわゆる外資系の製薬企業だからということではなく、日本の企業でもグローバル化を進めているような企業も現在やっていますので、日本の施設と患者が参加するのはよいことだと思います。

その中で、福田先生がおっしゃるように、例えば QOL のデータも同時に収集するというのができれば、日本の患者の QOL も知ることができ、真にグローバルなスタ



津田 重城

ディーということになると思います。

ただ、一つ注意しなければならないのは、そのデータの収集において、全て国際的に全部ひとくくりで一つのやり方でやるということではなく、やはり日本の状況、日本の患者さんに合わせた適切なデータの収集の仕方が必要だと思っています。

その中で、日本にはEPPV（市販直後調査）という制度があると先ほどお話ししました。それによって、市販直後のデータを収集することができますし、一方で、細く長く医薬経済のデータを収集し続けていくことによって、実際に医薬経済という考え方にもみんなが慣れていく、そして、アウトカムを収集することができるようになると思っています。データが統合できないこともあり得るかもしれないということを認識した上でのことです。

EFPIAで、新しい薬価制度、すなわち新薬創出・適応外薬解消等促進加算などがどのような影響を与えたかということ、この2年間調査してきました。その結果、日本の国際共同治験への参加が以前のおよそ倍になったというデータが出てきました。このように、加算には非常に大きな効果があったということです。

ですので、先生がされたような提案は、これは十分考える価値があると思います。今後、このような対話を通じて、EFPIAとしてもどのようにデータ収集において貢献ができるかということを考えていきたいと思っています。

◎◎医療技術評価の専門家養成も必要

司会 ありがとうございました。いろいろお話を伺ってききましたが、ここで最後の一言をいただきたいと思います。

先ほどから取り上げられているISPORで、「いわゆる政治的駆け引きはいけない」という鎌江先生は発言されたようです。今後の中医協などにおける議論に望みたいことなど、鎌江先生からご発言をお願いします。

鎌江 中医協の動きは、既に中医協の外側では大きな影響を及ぼしています。例えば7月24日のISPORの日本部会では300人ぐらいの人が集まり、その前、3月にISPOR日本部会年会が開催された際にも既に300人程度の参加がありました。これは、2011年までISPORの日本部会の出席者数が50～60人程度であったことに比べると、驚異的な増加と言えるでしょう。厚労省の今の動きは、私としては大いに評価したいと考えています。

ただ、本日お話ししましたような総論部分の議論が弱いという意味での問題点もありますし、総論と各論というのは必ずしも切り離せないもので、各論に対する理解も十分ではないようにも見えます。

必ずしも専門部会で細かい各論ができるとは思いますが、やはりもう少し深いレベルでの議論が必要だろうと思います。

もう一つの大事な視点はアクセスの問題です。中医協の流れを受けての厚労省内部での議論が高まることは、第一歩として大きく評価できますが、最初にフォシェ先生がおっしゃったような、患者のアクセス制限やドラッグラグの増大への懸念に対して、経済評価導入がどのような影響をもつのかについての見解を政府は明らかにすべきでしょう。

また、今回の厚労省の取り組みはまだスタートしたばかりですから、これからの課題は多数あると思いますが、厚労省だけの管轄の問題で終わる話ではなく、ドラッグラグ解消問題の時に行われたような厚生労働省、経済産業省、文部科学省、内閣府合同での取り組みもいずれ必要になるかと思っています。

医学的な有効性の評価は、医療技術評価の立場から言えば第3ハードル問題です。第3ハードル問題には3省1府で取り組んだのに、第4ハードル問題の費用対効果は厚労省だけというのでは不十分な面もあるかと思われます。

また、大学人として気がかりなのは、わが国では基礎となる医薬経済学の学問的基盤がまだ非常に弱いという点です。学問でも、行政でも結局は人です。人材の力がなければ新しい政策の成功は望めません。そのためには、私は「三識」（意識・学識・組織）が必要と考えます。

まず2014年に新制度がスタートしても、そこに関わる

人材の拡大再生産、あるいは生涯教育の問題が必ず出てきます。企業内のオンサイト・ジョブ・トレーニングは当然必要ですが、それだけですむ問題ではなく、医療技術評価の専門家の養成をどうするのかの問題も含め、HTA や費用対効果分析を主専攻とするアメリカやヨーロッパの大学院プログラムと同等なわが国の専門教育環境の整備が焦眉の急です。

厚労省での臨床研究インフラ整備は、治験活性化5カ年計画の拠点病院整備といった箱物行政の範囲ですので、費用対効果研究を推進するのに必要な三識のなかで意識や学識の開発が取り残される懸念があります。それでは、本当の意味で第3ハードル問題から第4ハードル問題に進んでいくことはできないわけです。特に組織という点では、今後、国立の医療技術評価センターのような、中立的組織を設立する必要があると思います。したがって、今回の HTA の問題は単に薬価算定のルールをどう変えるかといった単に各論の問題だけではなく、まさに日本の医療政策ビジョンが国際的に問われる問題でもあります。その点をもう一度確認して、私の本日の最後のコメントとさせていただきますと存じます。

司会 フォンシェ先生からは、今後の中医協などにおける HTA の議論に望みたいことなどをお願いいたします。

フォンシェ 今までのディスカッションをベースにしてコメントをさせていただきますと、これから打ち立てていく制度の目的が価格を下げるためのものであってはいけないということです。これからさらに多くのディスカッションをしていかなければいけないと思います。価格抑制や価格を下げるための制度に関しては、もう既に十分に日本にはそういった制度が存在しますので、そこにエネルギーをかけるべきではないと思います。

それから、これから構築する制度は、患者さんのためのものとなりますので、新しい制度を考えるときには、中心に必ず患者さんを置くべきであると思います。そして、制度設計をする際には患者さん、それから臨床家、専門家のインプットが不可欠です。

今までのディスカッションを聞いてみると、建築家なしに建物を建てることはあり得ないということだと思います。ですから、まず計画を立てる、ガイドラインを作る、そしてスケジュール、タイムラインをきちんと引くということも大事ですし、人材のトレーニングも必要です。こういった資格が必要かということも検討しなければなりませんし、また、今あるデータ、活用できるデータはどういったものであるのか、新たに収集するデータはどういったものかということも検討しなければなりません。こういった活動にはやはりコストがかかります。

NICE は決して 10 人ぐらいの小さな委員会ではないということも理解しておかなければなりません。NICE の中心となっている人たちをサポートするために、3000 人ぐらいの人たちが活動しているということも、忘れてはならないと思います。

そして、実践的なアプローチが必要であろうと考えます。その中で、日本版の HTA を築いていくということが大事ではないでしょうか。もう既に日本の制度内にはいいところがたくさんありますので、いいところは残しておく。それから、患者への医薬品アクセスをきちんと守るということと、日本からのイノベーションを発信していくことが大事だと思います。グローバルのイノベーションの地図に日本が常に残っていられるようにすることが大事です。

専門家がこれから制度を作る上で大きく貢献することを望みます。世界が日本をうらやましいと思って、日本から学びたいと思えるような制度を作っていただければと思います。もう既に日本は素晴らしい医療制度があって、多くの人たちがそれを学びたいと思ってますので、今のよう日本の人たちが欧米やその他の国に出て行って、模倣することのできないような制度を学んでくるというのではなく、逆に欧米の人たちが日本に来て日本の成功から学びたいというような制度を、ぜひ構築していただきたいというのが私のメッセージです。

福田 先生方から非常に重要なコメントをいただいたので、私は付け足すことはあまりないようです。

せっかく中医協や専門の部会などで 24 年度、具体的な議論が始まったので、これを続けて何らかの形で HTA を導入していけたらという思いは、正直、あります。ただ、今日も皆さんのお話を伺っていて思ったのは、導入に際し、例えば日本は HTA の適用や応用があまり進んでいないからとか、欧米で行われているからそれをまねしてやろうとかではなく、やはり大きな目的を考えて、それを見失わずに進めて行くというのが重要ではないかととても思いました。

もちろん、こういうことをやっていくことが、現在の制度に比べて患者さんであったり医療専門職であったり産業であったり、多くの人に影響を与える可能性がありますので、それを総合的に見て、今の制度よりも良いものになるのでなければあまりやる意義はないと思います。最終的には、日本はベースとして世界に誇れる国民皆保険制度を持っていると思っていますので、皆保険制度の中で、国民は必ずしも医療費負担を少しでも減らしたいと思っているわけではない、いい医薬品や治る技術を求めていると思いますので、国民が納得してそういう医療費を負担していく、それを合理的に使っていくというような仕組みができるよ

うなことを一つの大きな目標として、具体的なことを議論する場合にもそういう大きな方針を見失わずに行くのが重要だなと思いました。

司会 今日は大変長時間にわたりまして、大変興味深いお話を伺うことができました。どうもありがとうございました。

＜＜出席者紹介＞＞

フィリップ・フォシェ（Philippe Fauchet）：欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）会長

1979年 HEC（エコール・デ・オート・ゼチュド・コメルシアル）にて経営管理修士課程（MBA）を取得

1980年 パリ大学にて法学位を取得

1984年 ヘキスト・マリオン・ルセル入社

1996年 サノフィ・サンテラボ

2001年 サノフィ・サンテラボ株式会社 代表取締役社長に就任

2004年 サノフィ・アベンティス

2005年 サノフィ・アベンティス株式会社 代表取締役社長に就任

2009年 サノフィ・アベンティス・グループ シニア・バイス・プレジデント、コーポレート・ビジネス・デベロップメント・ヘッド、マネジメント・コミッティー・メンバーに就任

2010年 グラクソ・スミスクライン株式会社 代表取締役社長に就任

2010年9月 欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）副会長に就任

2012年1月 欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）会長に就任

鎌江 伊三夫：東京大学公共政策大学院 特任教授

1977年 京都大学工学部情報工学科卒業

1979年 同大学院修士課程情報工学専攻卒業（工学修士）

1985年 神戸大学医学部医学科卒業

1988年 米国ハーバード大学公衆衛生大学院修士課程卒業（医学統計学専攻，Master of Public Health）

1993年 島根医科大学医療情報学講座助教授

1994年 京都大学医学部付属病院総合診療部助教授

1995年 米国ハーバード大学公衆衛生大学院博士取得（医療決定科学専攻，Doctor of Public Health）

1997年 神戸大学都市安全研究センター教授，医学部教授兼務

2007年 慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科教授

2011年 キヤノングローバル戦略研究所 研究主幹

2012年 現職

福田 敬：国立保健医療科学院 研究情報支援研究センター 上席主任研究官

1990年 東京大学医学部保健学科卒業

1995年 東京大学大学院医学系研究科保健学専攻博士課程修了

1995年 東京大学医学部 保健管理学教室 助手

2001年 東京大学大学院薬学系研究科 医薬経済学 客員助教授

2006年 東京大学大学院薬学系研究科 医薬政策学 客員助教授

2006年 医療経済研究機構 研究部長（兼任）

2007年 東京大学大学院医学系研究科 臨床疫学・経済学分野 准教授

2011年 現職

津田 重城：一般財団法人医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団 専務理事

1983年 北海道大学大学院薬学研究科修士課程修了

1983年 厚生省入省

1989年 経済協力開発機構（OECD）派遣

1992年 厚生省薬務局安全課課長補佐

2004年 医薬品医療機器総合機構品質管理部基準課長

2007年 厚生労働省退職

2007年 日本公定書協会事務局長兼学術・研修部長

2009年 日本公定書協会常務理事

2012年 現職