

「日本版医療技術評価 (HTA)」について

第1回 背景と論点

東京大学 公共政策大学院 特任教授
キャノングローバル戦略研究所 研究主幹
鎌江 伊三夫 氏

はじめに

半世紀前に国民皆保険を樹立した日本は、世界中の優等生とされる医療を実現してきた。しかし、世界経済の不安定化や止まらない医療費増大のなかで、果たして日本が現在の国民皆保険制度を持続できるのかという懸念が生じている。同様な問題は世界の各国でも起こっている。すなわち、医療が各国個別の問題に過ぎないと考えられていた時代は終焉し、医療もいわゆるグローバリゼーションの下で多くの国が共通の問題に直面するようになった。

そのひとつが、北米や欧州はもとより、アジアや南米に至るまでの広汎な世界各国において急速に拡大してきた医療技術評価 (Health Technology Assessment; HTA) の問題である。このHTAの概念は、医療技術評価機関国際ネットワーク (International Network of Agencies for Health Technology Assessment; INAHTA) によれば、「医療技術の開発、普及、および使用により生じる医学的、経済的、社会的、かつ倫理的意義を分析する学際的な政策研究分野である」と定義される^[1]。しかし、狭義には、医療経済学的視点に立って医薬品や医療機器の許認可や価格決定を行い、国民に公正な医療を実現することを目的する公共政策の新しいアプローチとして認識されている。

そのような政策は1990年代初頭、カナダ、オーストラリア両国による医薬品償還への経済評価の必須

化に始まり、1999年の英国国立医療技術評価機構 (NICE) の創立を経て、またたくまにヨーロッパ各国に波及した。さらに、このNICEの影響は、アジアにも飛び火し、2008年1月、アジアで初めて韓国政府が医薬品の償還決定へのHTAの導入に踏み切り、台湾、タイ、マレーシア、中国などが同様な方向へ動き出しアジアのリーダーシップを競い合うに至っている。

このような情勢の下、我が国では医療のグローバリゼーションの新たな潮流に対応する政府の戦略が必ずしも見えず、国際的な孤立の懸念すら生じていた。そこで厚生労働省も、日本でも新たなHTAへの取り組みが必要であることを認識し、2012年度より中医協での費用対効果評価検討部会を立ち上げた。この部会では費用対効果の評価の観点からHTA問題への検討を始めている。そのため、いわゆる「日本版」HTAなるものがどのような形で導入されるのか、部会の動向に我が国の内外から注目が集まっている。そこで小稿では、日本版医療技術評価を語るに際しての問題を3回シリーズで考える。第1回は日本版HTAの背景と論点を明らかにする。

背景としてのVBMパラダイム

人類の歴史の長きに渡り継承されてきた古い経験に基づく医療は、20世紀の終わりになってようやく

終わりを告げ、新たに根拠に基づく医療（Evidence-based Medicine; EBM）が登場した^[2]。このEBMは、科学的に検証されたデータに基づいて医学上の診断法や治療法を選択することを旨とする考え方、科学的方法、および、それらの実践的教育の体系化を意味した。科学的に検証されたデータとは、主としてランダム化臨床試験により証明される医学的有効性（efficacy；効能）を意味し、EBMと臨床試験の密接な関係が導入された。また、EBMは主として臨床家により唱道され、新たな臨床の科学主義を象徴するようになった。英国オックスフォードEBMセンターを中心としてEBM学派が形成され、90年代初めから始まった国際学術誌JAMAでのEBMキャンペーンにより、国際的なEBMの認知が確立された。

しかし、EBMが医師にとっては第1に重要であっても、患者にとっての医療の選択や、あるいは社会にとっての政策立案には、さらに広範な医療の価値に対する評価が必要であることが認識されるようになり、臨床家限定のイメージの強いEBMパラダイムは開始後10年あまりで終わりを告げ、医療の価値を評価して最善の医療を実践しようとする価値に基づく医療（Value-based Medicine; VBM）が21世紀の新たなパラダイムとして登場した^[3]。このVBMでいう「価値」とは、EBMでの根拠の実体が臨床試験で証明される効能（Efficacy）であるのとは異なり、効能よりも広範な有効性（effectiveness）であると見なされるのが一般的である。しかし、広義の「価値」には、患者のQOLや倫理的因子、さらには経済的因子も含めて（あるいは関連させて）解釈される場合も多い。いずれにせよ、VBMにおいては、その学問的基盤として、従来の生物統計学、臨床疫学に加えて、医療技術の「価値を測る学問」としての医薬経済学も加えられた。従って、日本版HTAを議論するには、世界のVBMパラダイムシフトと医薬経済学の学問的方法論について一定の理解をもつことが前提となる^[4]。

中医協部会による中間整理

実際、厚生労働省の費用対効果評価検討部会では、これまで1年以上にわたる参考人からの情報提供を通して、各委員が世界のVBMパラダイムシフトと医薬経済学の学問的方法論について一定の共通認識を形成できるような議事進行が執り行われてきた。ようやく、本年9月4日に開催された第13回の部会にて、議論の中間的な整理がなされた^[5]。その資料によれば、「…医療技術の費用対効果評価については、「平成24年度診療報酬改定に係る答申書附帯意見」において、『革新的な新規医療材料やその材料を用いる新規技術、革新的な医薬品の保険適用の評価に際し、費用対効果の観点から可能な範囲で導入することについて検討を行うこと』とされたことを踏まえ、中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会を平成24年4月に設置し、以後計12回の議論を行った。検討の内容としては、「制度の基本的考え方」について議論を行った後に、「具体的な評価の運用手法」を「評価手法」と「具体的な評価の活用手法」に分けた上で、取り扱った。これまでの本部会での議論を踏まえ、認識の共有のため、議論の中間的な整理を行うこととする。」として、以下のような項目にわたっての論点整理がされた（以下、資料[5]からの抜粋）：

1. 医療技術の費用対効果評価の必要性について
…医療保険上の評価を行うにあたり、著しく従来技術よりも高額な費用を要する技術等一定の要件を満たす医療技術を対象として、効果（安全性・有効性等）のみならず、費用も考慮した評価を行うため、医療技術の費用対効果評価について導入を検討する必要性が確認された。

2. 制度の基本的な考え方

(1) 対象技術について

- ①希少な疾患を対象としていないこと。
- ②対象となる疾病について代替性のある他の医療技術が存在すること。

③代替する医療技術と比較して、有用性の観点から、財政影響が大きい可能性があること。

④安全性・有効性等が一定程度確立していること。
ただし、上記以外のものについても、今後の検討により必要がある場合は、対象とすることもあってはならないかという指摘もあった。

(2) 結果活用について

①医療技術の評価については、安全性・有効性の評価をはじめ、様々な観点からの評価を総合的に勘案するという考え方を基本的に維持しつつ、費用対効果評価の結果を活用し、より妥当な医療技術の評価を目指すものとする。

②費用対効果評価は医療技術の評価の一部であり、費用対効果評価の結果のみをもって保険収載の可否や償還価格を判定・評価するものではない。また、費用対効果評価の結果の判定の目安等についても、一定の柔軟性を持ったものとし、硬直的な運用を避けるものとする。

③費用及び効果の双方の観点からの評価を行うものであり、費用の観点のみの評価を行うものではない。

(3) 用語の定義について

以下の3つを総称して、医療技術と呼ぶこととする。

- 医薬品
- 医療材料
- 医療者等の技術（手術など）

3. 分析 (assessment) と評価 (appraisal) の区分について

諸外国における取り組みを踏まえると、費用対効果評価を用いた意思決定プロセスは下記の3要素に整理できる。

(1) 分析 (assessment) : 実際の費用対効果の分析を行い、増分費用効果比等を算出

(2) 評価 (appraisal) : 幅広い社会的側面も考慮し、費用対効果分析の結果を解釈

(3) 意思決定 (decision) : assessment) のみをもって、一律にdecisionを行うことなく、assessmentの結果を様々な要素を加味した上でappraisalし、

decisionを行う方向で検討を進めることが確認された。

4. 具体的な評価の運用手法について

(1) 評価手法

①効果指標の取り扱い

費用対効果評価の効果指標については、QOLを反映した生存期間である質調整生存年 (QALY)、生存年 (LY)、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率 (例えば脳卒中の発生率など) 等が検討の対象となった。…【方向性】効果指標に関する取り扱いについては、QALYを用いた増分費用効果比 (cost/QALY) を単一の指標とした機械的な運用により保険収載の可否を判断することは行わないことを前提とし、我が国の医療制度や医療現場の実情を踏まえつつ、質調整生存年 (QALY)、生存年 (LY)、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率等を効果指標とする際の運用方法やそれらの組み合わせのあり方等を今後検討する。また、費用対効果評価においては、効果指標の取り扱いと合わせて、評価 (appraisal) において医療技術をどのように評価するのが重要である。効果指標で捉えきれない医療技術の側面は、評価 (appraisal) において勘案することも考慮することを検討する。

②費用の範囲や取り扱い

(ア) 公的医療費：公的医療保険制度における医療費 (自己負担分含む)

(イ) 公的介護費：公的介護保険制度における介護費 (自己負担分含む)

(ウ) 生産性損失：仕事や家事ができないことによる生産性の損失

(エ) 家族等による介護等の費用：家族等が介護やケアを行うことによる費用

(オ) その他

…【方向性】費用の範囲や取り扱いについては、公的医療費のみを費用の範囲に含めることを原則としながら、公的介護費、生産性損失を費用に含めた分析を同時に提出することを可能とするなど、公的医

療費とそれ以外の費用の取り扱いを明確に区別しつつ、今後の検討を行う。

③比較対照のあり方

…【方向性】我が国において費用対効果評価を行う際の比較対照技術は、幅広く臨床現場等で使用されており、当該技術が導入されたときに、最も置き換わりうると想定されるものを原則として今後の検討を行う。

④データの取り扱い

…【方向性】幅広に関連する効果データの検索を行う等、網羅性を担保することとする。また、対象集団や診療実態の違い（例えば海外データの場合、医療技術の使用実態のわが国との違い等）等に留意しつつ、原則としてエビデンスレベルが高いデータを優先することとして、今後の検討を行う。費用データについては、原則として、「単価」は、診療報酬点数表、薬価基準、特定保険医療材料価格基準等を用いることとし、「回数」は、わが国の診療実態を適切に反映していると考えられるデータ（例：「ガイドライン等に示された標準的な診療過程」、「実際の診療を分析したデータ」）を用いることとして今後の検討を行う。

(2) 具体的な評価の活用手法

①-1 費用対効果評価の活用方法について

(ア) 保険償還の可否の判断を行う。

(イ) 保険償還価格への反映を行う。

我が国の公的医療保険制度のあり方を踏まえると、(イ)の償還価格への反映の方が適しているのではないかと。あるいは、アクセスを確保すること等については慎重に配慮しつつ、対象技術等の状況によっては、(ア)の保険償還の可否に活用することもあり得るのではないかと。また、今後は、我が国における具体例を元に結果活用の方法についての検討を行ってもよいのではないかとという意見もあった。

①-2 結果活用の時期について

(ア) 保険収載の前後

(イ) 保険収載後、1～2年を経過した後

(ウ) 保険収載後、数年経過後

…【方向性】現在の我が国の保険医療制度との整合性や患者アクセスの確保等に留意しつつ、保険償還の可否の判断や保険償還価格の決定に医療技術の費用対効果評価の結果を活用することについて、適宜具体例を用いることも考慮しながら、引き続き検討する。なお、結果活用の時期についても合わせて検討を行う

…引き続き、医療技術の保険適用の評価に際し、費用対効果の観点を導入することについて検討を行っていくこととする。

以上が、これまでの費用対効果評価検討部会からの中間的な論点整理の概要である。

日本版に向けた特徴とは何か

今回の中医協部会による中間整理は、今後の意見集約が必要な点もいくつか残されているが、とりあえず日本版HTAの枠組みの方向性を示したものと言えよう。ただし、おおまかな捉え方をすれば、この中間的整理は、評価の活用方法と時期を除いて基本的に英国NICE方式の踏襲とその微調整の色彩が濃い。これは、VBM概念の制度化と医薬経済学の学問的方法論の発展に、英国NICEが果たした主導的役割を考えると当然の帰結とも言える。

そのため、「日本版」といわれる所以が今後あるとすれば、評価の活用方法と時期に日本の特徴が組み込めるかどうか焦点となる。費用対効果評価の活用方法について、上記(ア)の保険償還の可否の判断を行うとすれば、英国NICEの制度や韓国で導入されたHTA（医療技術評価の政府組織であるHIRAで、費用対効果エビデンスを用いた新薬の償還可否を決定する）を模することになる。そのような方向での制度改正は必ずしも「日本版」とは呼ばなくなるが、さらに議論を重ねる必要があるだろう。

(イ)の保険償還価格への反映は、いわゆる「価値に基づく価格決定」(Value-based pricing; VBP)問題である。このVBPの考え方は、我が国の新薬加

算の方式と重なる部分があり、合理的な方式設計を行うことができるとすれば、いわゆる「日本版」の特徴が出せる可能性がある。筆者は日本の類似薬効比較方式に認められる薬価加算の考え方を、日本型準VBP (Quasi-VBP) と呼んでいる。この日本型準VBPの特徴は：

- 1) 医療技術の価値を一定程度に反映する
- 2) ベースラインの価格に対して加算を付ける
- 3) 加算率は、臨床的有用性、および薬価改定のための2年間での新薬の財政上の影響の両面を考慮して決定する
- 4) 定量的な費用対効果指標（たとえば、コスト/QALY）の評価を必須化していない

といった点で規定される。この日本型準VBPは、科学的根拠と方法論が必ずしも明確ではない点で問題は残されているが、国民皆保険とともに独自にVBP風なアプローチを導入している点は、我が国の薬価制度のある種の先進性を示すものとも言えよう。

また、日本型準VBPは活用の時期の問題とも連関する。現行の再算定ルールでは、市場拡大再算定時に臨床的有用性を考慮した加算の可能性が認められているが、これは再算定時の日本型準VBPと見なすことができる。筆者は、これを新薬の薬価算定時と区別して、第2種の日本型準VBPと呼ぶ（一方、新薬の薬価算定時のものは第1種の日本型準VBPとして区別）。日本型準VBPを医薬経済学的に定式化して日本版HTAの特徴とするならば、第1種、第2種のいずれに焦点を当てるべきなのか今後の議論が必要である。その観点からすれば、活用方法と時期の問題は別途ではなく、関連して議論されるべきものであると考えられる。

現在、2014年からのキャメロン政権による新政策としてのVBPが英国NICEでどのような方式として実現されるのかに国際的関心が寄せられている。一方、フランスでは、従来の費用対効果エビデンスを考慮した2段階（SMRとASMR）による償還価格決定方式を一つの指標に集約する方式に変えること

が検討されている。ドイツの償還価格決定方式もフランスの2段階方式に類似した方向での改革が行われつつある。これら3国に見られるVBPをめぐるアプローチの差異は、日本版HTAを検討し始めた我が国にとって大いに参考となる。そのため、東京大学公共政策大学院では2013年10月24日に「英仏独の対立点に学ぶ日本の選択」と題する第2回HTA国際シンポジウムの開催を予定している^[6]。(つづく)

参考文献

- [1] INAHTA (International Network of Agencies for Health Technology Assessment) : HTA Resources, 2009. <http://www.inahta.org/HTA> [最新アクセス 2013年9月18日]
- [2] Sackett DL, Straus S, Richardson SR, Rosenberg W, Gray JA, Haynes RB: Evidence-Based Medicine: How to Practice and Teach EBM. Churchill Livingstone, London, UK, 2000
- [3] Brown MM, Brown GC, Sharma S. Evidence-based to value-based medicine. AMA Press, USA, 2005
- [4] 鎌江、林、城山編. 医療技術の経済評価と公共政策－海外の事情と日本の針路. じほう, 東京, 2013
- [5] 中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会（第13回）議事次第. <http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/0000020570.html> [最新アクセス 2013年9月18日]
- [6] 東京大学公共政策大学院 寄付講座「医療技術評価・政策学」国際シンポジウム <http://www.pp.u-tokyo.ac.jp/HTA/events/2013-10-24/index.html> [最新アクセス 2013年9月18日]