



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

# 医薬品の費用対効果評価に対する基本的見解

～患者さん中心の意思決定を目指して～



欧州製薬団体連合会

2020年1月

# 私たちは「費用対効果評価制度」の 継続的な見直しを求めます

2019年4月、日本政府はそれまで試行的に行っていた医薬品などに対する「費用対効果評価制度」を正式に導入しました。これは、費用対効果評価に基づき、公的保険の適用となる医療用医薬品の公定価格（薬価）を発売後に調整する制度です。

薬価はこれまで、医薬品の有効性と安全性のデータに基づき、その画期性などが評価されて決められてきました。しかし、2019年4月以降、一定の要件を満たしたり、または、国が必要と判断した医薬品に関しては、他の医薬品と比べて、「費用」と「効果」がどれだけ増えるかを比較する経済的視点に重きを置いた評価が行われることになりました（図1）。

日本では、医薬品を含む医療技術に対する医療経済学的評価の経験が浅く、学術的専門性をさらに高めていく必要があります。2019年4月以降に対象となった医薬品の費用対効果分析に関して、海外で豊富な経験を有する欧州製薬企業と国側分析グループの間で学術的知見や手続きの透明性の在り方などでギャップが指摘されています。このため、経済評価を行う国の機関と製薬企業が透明性を担保した上で、客観的な議論を進めていく制度や環境を整えることが重要です。

図1. 新薬に対する費用対効果評価の流れ（対象の場合）



## 希少な病気の治療薬も対象に

厚生労働省は、患者数の少ない希少疾患や小児のみに使用される医薬品は、原則として費用対効果評価の対象外とするルールを定めました。しかし、同時に、販売規模が大きかったり、単価が高い場合などは、「中医協総会の判断により費用対効果評価の対象とする」としています<sup>1</sup>。「中医協」は、医療提供者や保険者などの代表者が参加する厚生労働大臣の諮問機関です。

費用対効果評価制度の正式導入後にその対象となった医薬品の中には白血病などに用いる「希少疾病用医薬品」でした<sup>2</sup>。患者数が少なく、医療ニーズも高い病気の治療薬で「費用対効果」が求められました。公的保険制度における公平性等に鑑みると、希少な病気や難病等に関しては、倫理的な配慮が十分に行われ、費用対効果の対象外とすることが必要と考えられます。

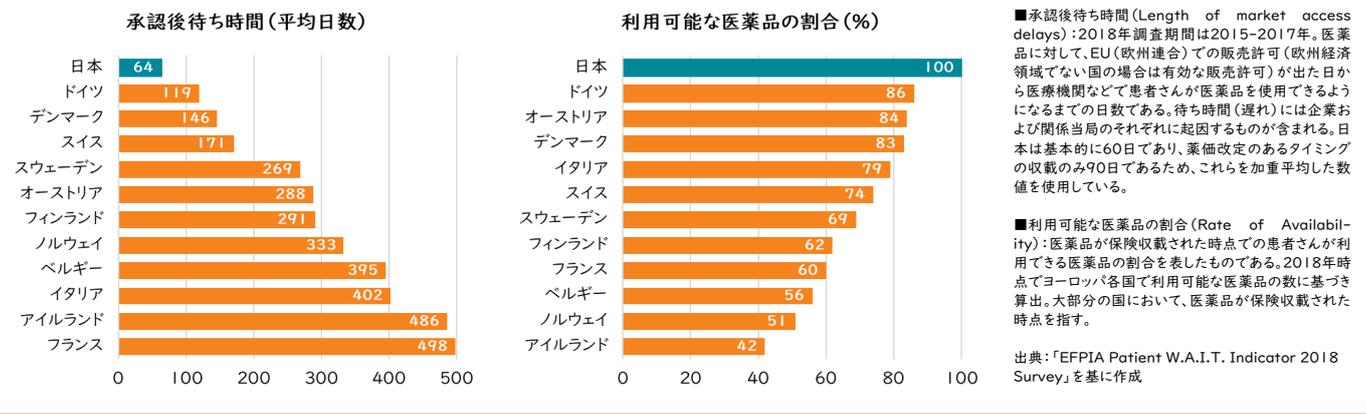
## 「ドラッグラグ」再燃の懸念 新薬の“保険外し”の可能性も

現在、将来的に費用対効果評価を使って新薬を公的保険の適用対象から外すべきとの主張が一部で行われています。

特に財務省は、将来的には費用対効果評価に基づき、医薬品を保険適用の対象とすることがどうかを判断したい考えを示しています<sup>3</sup>。保険者の代表も同様の考えを示しています<sup>4</sup>。

一方、公的保険制度を所管する厚生労働省は、販売許可（薬事承認）を与えた医薬品は原則として全て保険適用する方針を示しています<sup>5</sup>。医師の代表者も同様の考えを示しています<sup>6</sup>。

図2. ヨーロッパ各国における医薬品アクセスの状況



日本では、販売許可（薬事承認）を受けた新薬は基本的に60日以内に保険適用が決まり、患者さんが利用できるようになります。一方海外では、新薬が日本のようにすぐに保険適用の対象になるとは限りません。一部の国では、費用対効果評価を含む「医療技術評価」（HTA）に基づき公的保険の適用が認められない場合もあるなど、患者さんがすぐに新薬へアクセスできず、最適な治療が受けられない問題が報告されています<sup>7</sup>。

販売許可後に患者さんが新薬にアクセスできるまでの「待ち時間」などは、ヨーロッパでは国ごとに大きく異なります（図2）。もし日本でも費用対効果評価などに基づいて新薬の保険適用の判断を行う仕組みとなった場合、現在の誰もが最新で質の高い治療を受けられる医療環境が大きく変化してしまう可能性があります。特に近年は、日本での医薬品

の開発と販売許可が海外よりも遅れる「ドラッグラグ」が解消<sup>8</sup>されてきましたが、この問題が再燃する可能性を否定できません。

### 医療の効率化や重症化予防も重要

日本の国民医療費は43兆円（2017年度）に上り<sup>9</sup>、今後も増加すると予測されています。国は、高齢化による医療費高騰を抑制するため、社会保障制度改革を進めています。

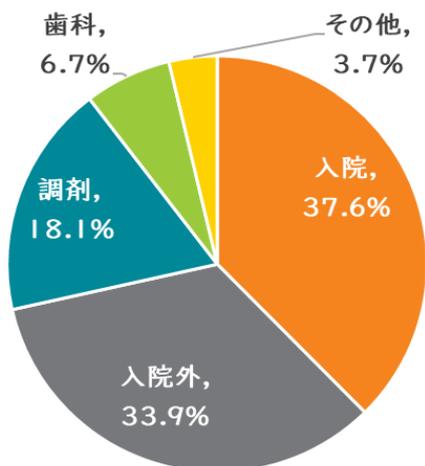
国民医療費に占める医薬品（薬剤費）の割合は近年、約20%で推移しています<sup>10</sup>。一方、残りの約80%は入院や入院外（外来）などの費用です（図3）。

私たちは、効率化が図れる領域で医療費を最適化することで、イノベーション（技術革新）がもたらす価値と国民皆保険制度の維持とのバランスを図ることが大切だと考えています。そのためには、患者さん、医療関係者、政策決定者、製薬企業などを含む医療に関わる全ての関係者（ステークホルダー）が協力し、正確で科学的な情報に基づき最善策を検討することが重要です。

### 医薬品が生み出す社会的価値 将来軽減できる負担の評価も

新薬が患者さんにもたらす価値は、治療効果だけではなく、生活の質（QoL）の改善から介護・寝たきり予防まで、男女問わず、子どもから高齢者まで、多くの人にとっ

図3. 国民医療費の構成割合



厚生労働省「平成29年度 国民医療費の概況」を基に作成

での長期的な社会的価値が期待されます。同時に、将来に「軽減できる疾病負担」も予測できます。

抗がん剤の中には、患者さんの生存期間を延ばす治療効果だけではなく、従来よりも投与が簡便になるなどの特長を持つものもあります。患者数が増える一方、生存率も上昇傾向にある日本<sup>11</sup>で、新薬には「治療と仕事の両立」の実現に貢献でき、患者さんの経済活動を支えることができる可能性があります。

脳卒中予防薬は、脳卒中による寝たきりになるリスクを減らすことにより、患者さん本人だけではなく、介護者の負担を小さくすることが期待されます。2018年末に脳卒中・循環器病対策基本法が成立<sup>12</sup>するなど、日本人の死因第3位である脳血管疾患（脳卒中）<sup>13</sup>の予防は社会的課題です。

主に喫煙を原因として中高年で発症する生活習慣病とされる慢性閉塞性肺疾患（COPD）<sup>14</sup>は、健常者と比べて週労働損失時間が有意に長いことなどが指摘されています<sup>15</sup>。このような病気の治療には、患者さんの健康状態を改善するだけではなく、社会的損失を軽減することが期待されています。

従来よりも有効性や安全性、利便性が向上した新薬には、患者さんの病気を治すだけではなく、生活の質を改善したり、社会的課題を解決することが期待されます。医薬品が持

つ多面的な価値は、全ての当事者が関与できる高い透明性が確保された下で、適切に評価される必要があります。



欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）は、日本政府に対して次の取り組みを提言し、費用対効果評価制度を継続的に見直すことを求めます。

## 【政策提言】

1. 費用対効果評価を医薬品の保険適用判断に用いない。
2. 医薬品の社会的・倫理的価値も長期的視点で総合評価する。
3. 全ての当事者が関与できる、高い透明性を確保する。
4. 薬価制度に対する補足ツールとして用いる。

### 【参照資料】

1. 厚生労働省通知「医薬品、医療機器及び再生医療等製品の費用対効果評価に関する取扱いについて」（2019年3月29日）
2. 中央社会保険医療協議会総会資料（2019年5月15日及び8月28日）
3. 日刊業WEB「費用対効果、既収載含め対象拡大検討を 財務省・吉野主計官 償還可否「最終的な目標」（2019年4月19日）
4. 健保ニュース「高額薬剤を再評価で適正化 国民・患者の納得する仕組みが必要」（2019年11月15日）
5. 日刊業WEB「費用対効果、患者アクセス最優先に 厚労省・古元医療課企画官 日本に合った仕組み、今後も模索」（2019年4月23日）
6. 日刊業WEB「あくまで薬価制度を補完、費用対効果に「一定の評価」 日医・松本氏 継続的な検討は必要」（2019年3月6日）
7. Boseley, Sarah (Dec 29, 2016). Breast cancer drug rejected for NHS use on cost-benefit grounds. *The Guardian*. <https://www.theguardian.com/society/2016/dec/29/breast-cancer-drug-kadcyla-rejected-for-nhs-use-on-cost-benefit-grounds>
8. 医薬品医療機器総合機構「ドラッグ・ラグの試算（平成25～29年度）」
9. 厚生労働省「平成29年度 国民医療費の概況」（2019年9月26日）
10. 中央社会保険医療協議会総会資料4-1（2019年6月26日）
11. 国立がん研究センター「がん情報サービス」（2017年6月14日）
12. 参議院法制局「健康寿命の延伸等を図るための脳卒中、心臓病その他の循環器病に係る対策に関する基本法（平成30年12月14日法律第105号）」
13. 厚生労働省「平成29年（2017）人口動態統計（確定数）の概況」（2018年9月7日）
14. 日本呼吸器学会「呼吸器の病気 B01 気道閉塞性疾患 慢性閉塞性肺疾患（COPD）」（2014年3月）
15. 日本医療政策機構「我が国における慢性閉塞性肺疾患(COPD)の課題および対策」（2014年1月）

## 欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）

2002年4月に設立されたEFPIA Japanには、日本で事業展開している欧州の研究開発志向の製薬企業24社が加盟しています。2016年の加盟各社の総売上高は、日本の製薬市場の売り上げの約22%を占めています。EFPIA Japanの使命は、“革新的な医薬品・ワクチンの早期導入を通じて、日本の医療と患者さんに貢献する”ことです。EFPIA Japanは日本の医療向上に向けて政策決定者との対話を強化することを目指しています。



<http://efpia.jp>

事務局問い合わせ先: [info@efpia.jp](mailto:info@efpia.jp)