



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 ～科学的妥当性と透明性の向上に向けて～

欧州製薬団体連合会

2021年8月



科学的妥当性と透明性の高い 医薬品の費用対効果評価制度に向けて

医療用医薬品を対象とした「費用対効果評価制度」は2019年4月、医薬品の公定価格（薬価）に含まれる有用性加算の妥当性を検証するため、医薬品の保険償還後に費用対効果分析を行い、その評価結果に基づき価格調整を行うことを目的に正式に導入されました。私たち欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan）は、費用対効果評価制度について、導入以前から多くの課題があると考え、制度の見直しを継続的に求めています。特に、費用対効果評価制度が医療費（薬剤費）の削減のために使われたり、将来的に医療用医薬品の保険償還の可否判断に利用されたりすることで、患者さんが最適な治療を受けられなくなることを懸念しています。

「基本的考え方」の再確認

費用対効果評価制度を巡っては、国の中央社会保険医療協議会（中医協）が2012年7月、「制度の基本的考え方」として、費用対効果評価の対象技術と結果活用の原則を確認しています。¹

対象技術の原則では、「全ての医療技術（全個別技術）を費用対効果評価の対象とするわけではない」などとした上で、同評価の対象とする条件の一つとして「希少な疾患を対象としていない」ことなどが挙げられています。

結果活用の原則では、「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」「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」などとしており、同制度を保険償還の可否判断には用いないことも確認されました。

2019年の正式導入に際しても費用対効果評価制度を「保険償還の可否の判断に用いるのではなく、いったん保険収載した上で、価格の調整に用いる」こととされ、評価結果に基づく価格調整の範囲は「薬価・材料価格制度を補完する視点」を踏まえるとされました。²

費用対効果評価の在り方と限界

費用対効果評価を含む医療技術評価（HTA）は、「医療技術の使用に関連する医療、社会、経済、および倫理的問題についての情報を体系的、透明、公平、堅固な方法で集約する学際的なプロセス」で、その目的は、「患者を重視して優れた価値の実現を求める安全で効果的な医療方針に関する情報を伝えること」です。³

費用対効果分析では、例えば、「がん治療に対する医療費はXXX万円を超えると費用対効果が良くない」と判断するためには、基準としての「支払い意思額」が必要です。費用対効果評価制度の試行導入時には、支払い意思額に関して患者団体から国民的合意を得るための仕組みづくりが国へ要望⁴されました。しかし、正式導入に際しては、国として新たな支払い意思額調査は行わないことが決まりました。^{5,6}費用対効果を判断する重要な基準が国民調査を経ずに決められたことは、制度の妥当性を低下させる要因の一つとなります。

日本の費用対効果評価制度においても科学的妥当性や透明性等の確保が重要ですが、制度としての在り方に改善の余地があります。

臨床的視点や透明性確保、 アプレイザル実施が必要

第1に、医薬品の価値評価には臨床的視点が十分に反映されることが重要です。実際に行われた費用対効果評価の分析前協議では、対象医薬品の追加的有用性の定義や部分集団の設定などで、医療の実態を反映する上で不可欠な臨床的観点十分に考慮されていませんでした。⁷特に国の機関が企業に対して臨床的意義に欠ける部分集団での分析を求め、学術的に検証されていない患者割合に関するデータも要求されましたが、適切な公表論文が存在せず、適切な議論が困難であったことが指摘されています。

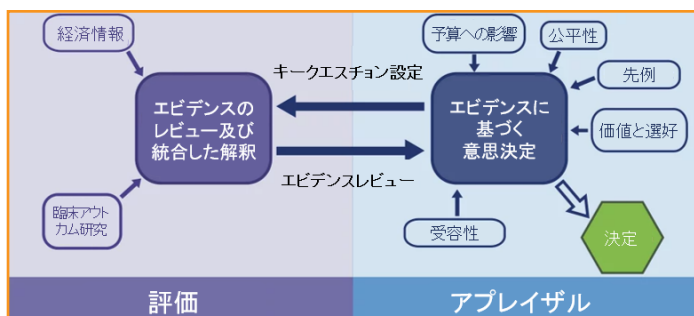
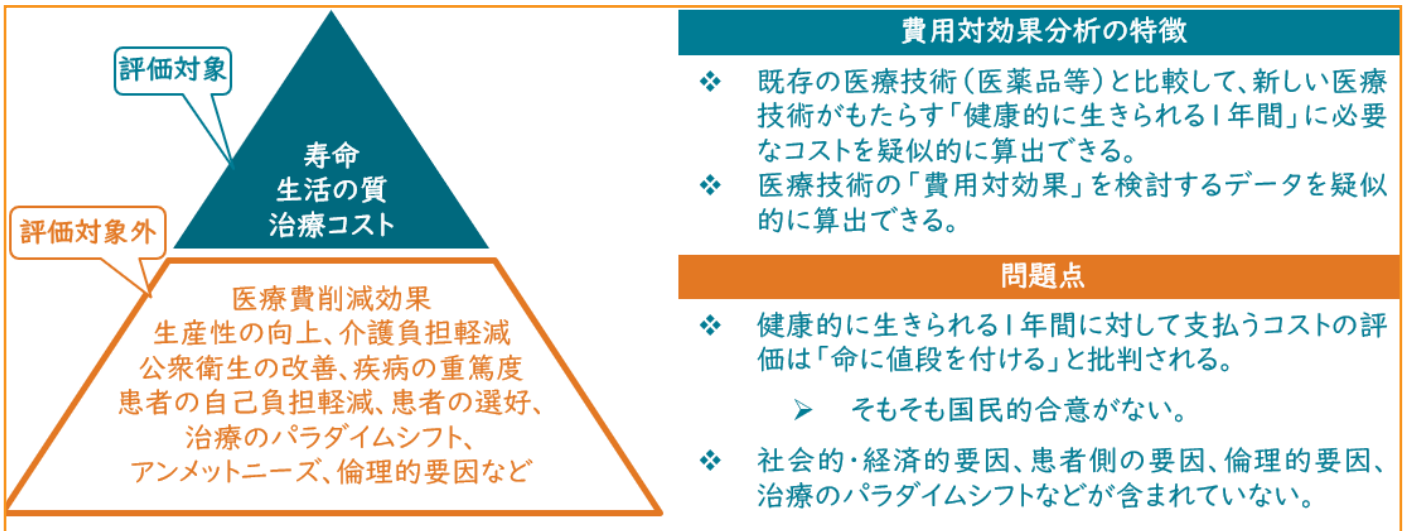


図1. HTAの主要な2つの構成要素：評価とアプレイザル：EUPATI. (n.d.-a). HTA systems in Europe (Retrieved July 8, 2021 from <https://toolbox.eupati.eu/resources/hta-systems-in-europe/>)から改変

図2. 費用対効果分析の特徴と問題 (EFPIA Japan作成)



私たちは、医薬品の価値評価に際して、医療経済性の視点に偏ることなく、臨床的な視点を適切に考慮し、患者さんに資する検討内容になるよう、企業と国の機関の双方が、当該疾病の診療を実際に行う臨床専門家を積極的に関与させることが必要と考えます。これによって、費用対効果分析を実際に行う事前検討段階で生じる課題が解決されることが期待できます。

第2に、医薬品がもたらす多様な価値を反映する「アプレイザル」の実施が必要です。欧州では一般的に医療経済性や臨床的アウトカムなどのエビデンスの「分析・評価」と、意思決定を行う「アプレイザル」は分離され、2段階で実施されます(図1)。アプレイザルでは、エビデンスの分析・評価だけではなく、様々な価値観や患者さんの声などの追加的情報が加味されます。⁸

費用対効果分析で評価できる医薬品の価値は限定的です(図2)。HTA本来の趣旨に鑑みれば、医薬品が患者さんにもたらす利便性などのほか、社会的・倫理的な貢献や中・長期的視点での間接的な経済効果なども評価対象となります。さらに、新型コロナウイルス感染症の世界的な流行による社会経済への甚大な影響を踏まえると、医薬品がもたらす社会的・倫理的な視点を価値評価の対象に含めることの重要性は明確です。⁹

私たちは、日本において、費用対効果分析だけでは評価できない医薬品の価値評価のため、医師や患者さん等が参画できるアプレイザルの実施が必要と考えます。

第3に、費用対効果評価制度の透明性を確保するため、同制度における意思決定過程を適切に記録し、情報公開が行われることが重要です。

実際に行われた費用対効果分析に関する企業と国側(国立保健医療科学院)で開かれた分析前協議では、詳細な議事録が残されていませんでした。私たちは、分析前協議における決定事項の根

拠を含む協議内容の詳細を記録した議事録作成と企業側への迅速な共有、企業秘密が守られた上での議事録の公開を通じて、費用対効果評価制度の透明性向上が必要と考えます。

第4に、医薬品を開発した当事者である企業が、当該医薬品の費用対効果評価を巡る様々な決定について、不服を含む意見表明を適宜行える機会が確保されるべきです。私たちは、医薬品に関する専門性の高い技術的な解釈や患者さんに資する価値の考え方を巡る企業と国側の間の相違が十分に議論され、科学的妥当性の高い結論が導き出されることが社会全体にとって重要であると考えます。

運用上の課題が山積

費用対効果評価の制度運用上の課題も指摘されています。^{10,11}

1) 実態を反映しない企業分析期間

企業による費用対効果分析の期間は現在、一律に9カ月間と定められていますが、実際に企業が行う分析に必要な作業量等の実態を反映していません。これは、企業による分析が、分析前協議を経て「分析枠組み」が決定しなければ始められないためです。私たちは、企業と国の機関の双方の負担を減らし、適切に分析作業を始めるためには、この分析期間は分析前協議が完了する時点で対象医薬品ごとに調整されるべきと考えます。現実的な分析期間の設定は、費用対効果評価制度の正式導入前から指摘されていた問題です。¹²

2) 類似品目に対する価格調整

類似品目(H5区分)に対する自動的な価格調整には科学的妥当性がありません。費用対効果評価は当該医薬品の臨床データに大きく依存したものであり、同様の適応症または適応症が異なる類似品目までも自動的に価格調整が行われること

は、医薬品の価値評価の観点から論理性に欠け、科学的ではありません。私たちは、企業が希望すれば、類似品目（H5区分）に対する費用対効果分析等を実施できる制度への見直しが必要と考えます。

3) 薬理作用等を条件とする価格調整

費用対効果が良い（「ドミナント」と呼ばれる）医薬品の有用性加算による加算率の上方調整については、「対象品目の薬理作用等が比較対照技術と著しく異なること」¹³を条件に認められています。しかし、薬理作用の一致また不一致等を条件にドミナントを評価することは、海外HTAでは科学的な基準とみなされていません。私たちは、このような条件は見直されるべきであり、ドミナントな医薬品は、比較対象の医薬品と同一薬効分類であっても価格引き上げを受けるべきと考えます。

4) 希少疾患の除外原則の徹底

指定難病を含む希少な疾患に対する医薬品は、原則として費用対効果評価の対象外とされていますが、実際には評価対象として選定されています。私たちは、新薬と既存薬のいずれについても、患者数が限られるなどの理由でデータが少なく不確実要素が高い希少な疾患に対する費用対効果評価を除外する原則が徹底されるべきであると考えます。もし希少な疾患の除外原則が徹底されない場合、患者さんの治療選択肢が限られるような高いアンメットニーズに対する医薬品を開発しようとする企業の意欲が削がれる可能性があります。

5) 有用性加算を検証する原則徹底

費用対効果評価制度は、すでに費用対効果分析が行われている医薬品について、効能・効果が追加された場合にはさらに費用対効果分析を行うこととされています。しかし、これは、追加された効能・効果に対する有用性加算が存在しない薬価制度と矛盾し、薬価制度を補完するものとしての費用対効果評価制度の基本的考え方^{14,15,16}とは異なるものです。

私たちは、有用性加算の検証を行うという制度の一貫性と原則論の観点から、効能・効果の追加を理由としたさらなる費用対効果評価は行われる

べきではないと考えます。効能・効果が追加されるたびに薬価が見直される可能性のある費用対効果評価が行われれば、適応範囲の拡大に向けた企業の開発意欲が削がれる可能性があります。

今後に向けて

私たちは、日本が費用対効果評価制度を保険償還の可否判断には用いないと決め、医薬品の価値が公正に評価される制度を目指していることを十分に理解しています。私たちは、患者さんを第一に考え、単に薬剤費の削減だけを目的とするような制度ではなく、イノベーションが適切に評価されることを主眼においた最適な医療制度の構築が必要であると考えます。

私たちは、日本の患者さんのイノベーションへのアクセスを確保し、医薬品の価値が適切に評価され、医療におけるその価値とコストのバランスが適切に保たれることが重要と考えます。費用対効果評価制度がこのような目的を実現できるよう、政策パートナーとして日本政府や利害関係者と対話を続けて参ります。

【引用文献】

1. 中薬協費用対効果評価専門部会。(2012, July 18). 中薬協 費-2 制度の基本的考え方について。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002f1a0.pdf
2. 中薬協費用対効果評価専門部会・薬価専門部会・保険医療材料専門部会合同部会。(2019, January 23). 費薬材-1。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000472472.pdf
3. EUPATI. (n.d.). 医療技術評価:重要な定義。Retrieved July 8, 2021, from https://toolbox.eupati.eu/resources/%E5%8C%BB%E7%99%82%E6%8A%80%E8%A1%93%E8%A9%95%E4%BE%A1%E9%87%8D%E8%A6%81%E3%81%AA%E5%AE%9A%E7%BE%A9/?lang=ja
4. 桜井なおみ N. (2018). 8. 患者目線からみた費用対効果評価 —費用対効果評価は患者にとって朗報なのか—。薬剤疫学, 23(1), 61-70. https://doi.org/10.3820/jpe.23.61
5. 中薬協費用対効果評価専門部会・薬価専門部会・保険医療材料専門部会合同部会。(2018, June 13). 議事録。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000203253_00003.html
6. 費用対効果評価、「健康のためにいくら支払えるか」との調査は国では行わない—中薬協・費用対効果評価合同部会(1)。(2018, June 13). GemMed. https://gemmed.ghc-j.com/?p=21060
7. 欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan). (2021, April 20). 費用対効果評価制度に対する提言。http://efpia.jp/link/04202021.EFPIA.Press.Release.Access.Committee.Standby.Statement.J.pdf
8. EUPATI. (n.d.-a). HTA systems in Europe. Retrieved July 8, 2021, from https://toolbox.eupati.eu/resources/hta-systems-in-europe/
9. 相徳泰子。(2021). 3. ワクチン・治療薬の価値評価: COVID-19パンデミックからの学び。薬剤疫学, 26(1), 71-78.
10. 欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan). (2021, April 20). 費用対効果評価制度に対する提言。http://efpia.jp/link/04202021.EFPIA.Press.Release.Access.Committee.Standby.Statement.J.pdf
11. 欧州製薬団体連合会。(2021, August 4). 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会<意見陳述資料>。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000816092.pdf
12. 日本製薬団体連合会/日本製薬工業協会/米国研究製薬工業協会/欧州製薬団体連合会。(2019, February 18). 費用対効果評価の制度化に対する意見。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000477028.pdf
13. 中薬協総会。(2021, February 10). 中薬協 総-9費用対効果評価制度の当面の運用について。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000736552.pdf
14. 中薬協費用対効果評価専門部会・薬価専門部会・保険医療材料専門部会合同部会。(2019, January 23). 費薬材-1。厚生労働省。https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000472472.pdf
15. 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, April 23). 日刊薬業 -. https://nkjih.jp/article/141448
16. 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。(2018, March 6). 日刊薬業。https://nkjih.jp/article/140200

欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan)

EFPIA Japanは2002年に設立され、日本市場で事業を展開する研究開発に基盤を置く20の欧州製薬企業で構成されています。私たちは日本で事業展開する革新的な欧州製薬企業の意見を表明してきました。私たちの使命は、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。



http://efpia.jp

事務局問い合わせ先: info@efpia.jp