

The background is a light blue gradient with several realistic water droplets of various sizes scattered across it. Some droplets are at the top, some at the bottom, and some on the right side. The main title is centered in the upper half of the image.

COST-EFFECTIVENESS AND VALUE ASSESSMENT OF PHARMACEUTICALS: —BETWEEN IDEAL AND REALITY—

OCTOBER 21, 2025

ATARU IGARASHI

DEPARTMENT OF HEALTH POLICY AND PUBLIC HEALTH,
GRADUATE SCHOOL OF PHARMACEUTICAL SCIENCES, THE UNIVERSITY OF TOKYO

二. 社会保障政策

- 「OTC類似薬を含む薬剤自己負担の見直し」、金融所得の

Reassessment of out-of-pocket costs for medications, including OTC-like drugs

令和七年通常国会で締結したいわゆる「医療法に関する三党合意書」に記載されている医療制度改革の具体的な制度設計を令和七年度中に実現しつつ、社会保障全体の改革を推進することで、現役世代の保険料率の上昇を止め、引き下げていくことを目指す。

- 社会保障関係費の急激な増加に対する危機感と、現役世代を中心とした過度な負担上昇に対する問題意識を共有し、この現状を打破するための抜本的な社会保険改革に関する両党の協議体を定期開催するものとする。

令和七年度中に、以下を含む社会保障改革項目に関する具体的な骨子し、令和八年度中に具体的な制度設計を行い、順次実行する。

- (一) 保険財政健全化策推進（インフレ下での医療給付費の在り方と、除料負担抑制との整合性を図るための制度的対応）
- (二) 医療介護分野における保険者の権限及び機能の強化並びに都道府県の構築、③介護保険サービスの在り方及び民間保険の活用に関する検討
- (三) 病院機能の強化、創薬機能の強化、患者の声の反映及びデータに計を実現するための中央社会保険医療協議会の改革
- (四) 医療費窓口負担に関する年齢によらない真に公平な応能負担の実現
- (五) 年齢に関わらず働き続けることが可能な社会を実現するための「義見直し」
- (六) 人口減少下でも地方の医療介護サービスが持続的に提供されるための「国民皆保険制度の中核を守るための公的保険の在り方及び民間保険の活用に関する検討」
- (七) 大学病院機能の強化（教育、研究及び臨床を行う医療従事者として適切な給与体系の構築等）
- (八) 高度機能医療を担う病院の経営安定化と従事者の処遇改善（診療報酬体系の抜本的見直し）
- (九) 配偶者の社会保険加入率上昇及び生涯非婚率上昇等をも踏まえた第三号被保険者制度等の見直し
- (一〇) 医療の費用対効果分析に係る指標の確立

Examination of the Role of Public Insurance to Protect the Core of Universal Health Coverage and the Use of Private Insurance

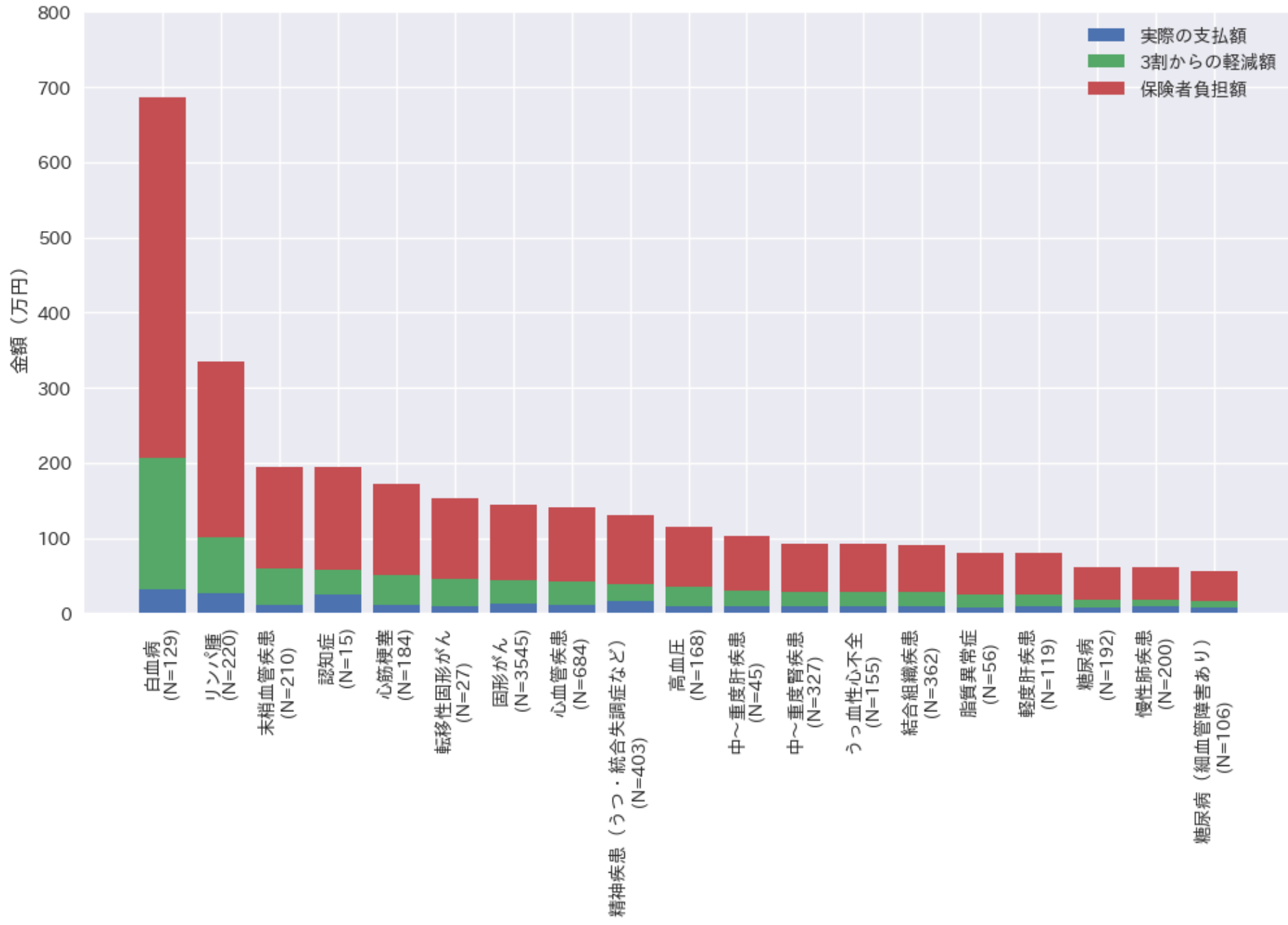
- (一一) 医療機関の収益構造の増強及び経営の安定化を図るための医療機関の営利事業の在り方等の見直し
- (一二) 医療機関における高度医療機器の更新等に係る現在の消費税負担の在り方等の見直し
- (一三) 医療機関における高度医療機器の更新等に係る現在の消費税負担の在り方等の見直し

Establishment of Metrics for Cost-Effectiveness Analysis in Healthcare

RELATIONSHIP BETWEEN INCOME LEVEL AND “CATASTROPHIC
HEALTH EXPENDITURE”
(WITH HIGH-COST MEDICAL EXPENSE BENEFIT APPLIED)

Overall: 17.0%
Among those with an annual income below
5.5 million yen, 36.4% fall under
the category of “catastrophic health
expenditure.”

	0	50	150	250	350	450	550	650	750	850	950	1100	1350	1750	2000	total
Ruin Spending	7	12	18	21	15	19	8	4	10	8	3	0	3	0	0	128
Total number of people	7	12	33	53	72	76	72	63	71	76	51	76	60	27	7	756
	100.0%	100.0%	54.5%	39.6%	20.8%	25.0%	11.1%	6.3%	14.1%	10.5%	5.9%	0.0%	5.0%	0.0%	0.0%	16.9%



THE BASIC POLICY ON ECONOMIC AND FISCAL MANAGEMENT AND REFORM(DRAFT AND FINAL VERSION)

表 「骨太の方針2025」の費用対効果評価の記載

原案 (6月6日付)	(創薬力の強化とイノベーションの推進・P40) イノベーションの推進や現役世代の保険料負担への配慮の観点から、費用対効果評価の更なる活用に向け、対象範囲の 拡大 や実施体制の 強化 、適切な評価手法の検討と併せ、薬価制度上の活用や診療上の活用等の方策を検討する。
閣議決定版 (6月13日付)	(創薬力の強化とイノベーションの推進・P43) イノベーションの推進や現役世代の保険料負担への配慮の観点から、費用対効果評価制度について、 客観的な検証を踏まえつつ 、更なる活用に向け、適切な評価手法、 対象範囲や実施体制の検討 と併せ、薬価制度上の活用や診療上の活用等の方策を検討する。

原案URL:https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/minutes/2025/0606shiryo_01.pdf

閣議決定版URL:https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2025/2025_basicpolicies_ja.pdf

- ① 医薬品の新規収載数の推移を検証し、費用対効果評価制度導入後も新規収載品目数は50品目前後、有用性系加算のある品目数は30品目前後で推移していた。
- ② 医療機器の新規収載数の推移を検証し、費用対効果評価制度導入後も新規収載品目数は25品目前後、有用性系加算のある品目数は10品目前後で推移していた。
- ③ 費用対効果評価指定品目の市場規模は、費用対効果評価に指定をされた67品目のうち、中央値は156億円/年であった。
- ④ 費用対効果評価の実態を検証し、費用対効果評価指定をされた67品目のうち、費用対効果分析実施をしたものは39品目で、20品目で製造販売業者から不服申立てがあった。
- ⑤ 費用対効果分析を実施した39品目における分析対象集団は合計90集団で、1品目あたり平均2.3集団、分析対象集団ごとの患者割合は平均45.2%であった。
- ⑥ 費用対効果評価分析において、分析不能が4集団（3品目）、追加的有用性が示されていないものが27集団（18品目）、ICERが1,000万円/QALYの区分に該当するものは、13集団（10品目）であった。
- ⑦ 費用対効果評価が終了した49品目中、38品目（78%）で価格が調整され、薬価・材料価格全体に対する価格調整額の割合（価格調整率）は、中央値-4.29%[-2.58%, -8.07%]だった。
- ⑧ 価格調整が行われた38品目の58%で、価格調整率は-5.0%以上0%未満であった。
- ⑨ 価格調整後の価格を用いて改めてICERを算出した際に、ICERの区分が変化したものは、価格調整があった30品目のうち1品目のみだった。
- ⑩ 比較対照技術と比べて追加的有用性が示されなかった18品目のうち、6品目において全ての分析対象集団で追加的有用性が示されなかった。

Is the current summary really an
“objective evaluation”???

WHAT IS “PRIORITY AND NON-PRIORITY” MEDICAL CARE?

Clearly ineffective
medical care

Substitutable minor
medical care?
Self-medication

Preventive healthcare
Vaccines, health promotion,
etc.

Changes in
the co-payment rate itself

“SEEMINGLY” REASONABLE COST-EFFECTIVENESS?

Establish a pricing and insurance system with clear distinctions

Charge a fair price for “good” treatments and cut back on those that are not.

Use cost-effectiveness to judge the balance between money and “value”!

二. 社会保障政策

- **OTC類似薬を含む薬剤自己負担の見直し**、金融所得の

令和七年通常国会で締結したいわゆる「医療法に関する三党合意書」に記載されている医療制度改革の具体的な制度設計を令和七年度中に実現しつつ、社会保障全体の改革を推進することで、現役世代の保険料率の上昇を止め、引き下げていくことを目指す。

- 社会保障関係費の急激な増加に対する危機感と、現役世代を中心とした過度な負担上昇に対する問題意識を共有し、この現状を打破するための抜本的な社会保険改革に関する両党の協議体を定期開催するものとする。

令和七年度中に、以下を含む社会保障改革項目に関する具体的な骨子し、令和八年度中に具体的な制度設計を行い、順次実行する。

- (一) 保険財政健全化策推進（インフレ下での医療給付費の在り方と、除料負担抑制との整合性を図るための制度的対応）
- (二) 医療介護分野における保険者の権限及び機能の強化並びに都道府県の構築、③介護保険サービスの在り方及び民間保険の活用に関する検討
- (三) 病院機能の強化、創薬機能の強化、患者の声の反映及びデータに計を実現するための中央社会保険医療協議会の改革
- (四) 医療費窓口負担に関する年齢によらない真に公平な応能負担の実現
- (五) 年齢に関わらず働き続けることが可能な社会を実現するための「義見直し」
- (六) 人口減少下でも地方の医療介護サービスが持続的に提供されるための「国民皆保険制度の中核を守るための公的保険の在り方及び民間保険の活用に関する検討」
- (七) 国民皆保険制度の中核を守るための公的保険の在り方及び民間保険の活用に関する検討
- (八) 大学病院機能の強化（教育、研究及び臨床を行う医療従事者として適切な給与体系の構築等）
- (九) 高度機能医療を担う病院の経営安定化と従事者の処遇改善（診療報酬体系の抜本的見直し）
- (一〇) 配偶者の社会保険加入率上昇及び生涯非婚率上昇等をも踏まえた第三号被保険者制度等の見直し

(一一) 医療の費用対効果分析に係る指標の確立

(一二) 医療機関の収益構造の増強及び経営の安定化を図るための医療機関の営利事業の在り方等の見直し

(一三) 医療機関における高度医療機器更新等に係る現在の消費税負担の在り方等の見直し

- 昨今の物価高騰に伴う病院及び介護施設の経営状況を好転させるための施策

Establishment of Metrics for Cost-Effectiveness Analysis in Healthcare

Reassessment of out-of-pocket costs for medications, including OTC-like drugs

Examination of the Role of Public Insurance to Protect the Core of Universal Health Coverage and the Use of Private Insurance

QOL値の質問票 EQ-5D-5L (EuroQOL 5dimension,5level)

各項目において、あなたの今日の健康状態を最もよく表している
四角(□)1つに✓印をつけてください

移動の程度

歩き回るのに問題はない

☒ 0

歩き回るのに少し問題がある

☐ 0.0639

歩き回るのに中程度の問題がある

☐ 0.1126

歩き回るのにかなり問題がある

☐ 0.1790

歩き回ることができない

☐ 0.2429

身の回りの管理

自分で身体を洗ったり着替えをするのに問題はない

☒ 0

自分で身体を洗ったり着替えをするのに少し問題がある

☐ 0.0436

自分で身体を洗ったり着替えをするのに中程度の問題がある

☐ 0.0767

自分で身体を洗ったり着替えをするのにかなり問題がある

☐ 0.1243

自分で身体を洗ったり着替えをすることができない

☐ 0.1597

ふだんの活動 (例:仕事、勉強、家族・余暇活動)

ふだんの活動を行うのに問題はない

☐ 0

ふだんの活動を行うのに少し問題がある

☒ 0.0504

ふだんの活動を行うのに中程度の問題がある

☐ 0.0911

ふだんの活動を行うのにかなり問題がある

☐ 0.1479

ふだんの活動を行うことができない

☐ 0.1748

痛み／不快感

痛みや不快感はない

☐ 0

少し痛みや不快感がある

☒ 0.0445

中程度の痛みや不快感がある

☐ 0.0682

かなりの痛みや不快感がある

☐ 0.1314

極度の痛みや不快感がある

☐ 0.1912

不安／ふさぎ込み

不安でもふさぎ込んでもいない

☒ 0

少し不安あるいはふさぎ込んでいる

☐ 0.0718

中程度に不安あるいはふさぎ込んでいる

☐ 0.1105

かなり不安あるいはふさぎ込んでいる

☐ 0.1682

極度に不安あるいはふさぎ込んでいる

☐ 0.1960

QOL値はいくつ?

QOL値

$$1 - \left(\begin{array}{c} \boxed{0} \\ \text{移動の程度} \\ \text{レベル1} \end{array} + \begin{array}{c} \boxed{0} \\ \text{身の回りの管理} \\ \text{レベル1} \end{array} + \begin{array}{c} \boxed{0.0504} \\ \text{ふだんの活動} \\ \text{レベル2} \end{array} + \begin{array}{c} \boxed{0.0445} \\ \text{痛み／不快感} \\ \text{レベル2} \end{array} + \begin{array}{c} \boxed{0} \\ \text{不安／ふさぎ込み} \\ \text{レベル1} \end{array} + \begin{array}{c} \boxed{0.0609} \\ \text{定数項} \\ \text{(常に加算)} \end{array} \right) = \boxed{0.8442}$$

AN EXAMPLE OF UNCERTAINTY (INSTABILITY): THE MIGRAINE TREATMENT DRUG EMGALITY

	Incremental effect	Incremental cost	ICER
Company Analysis	0.2298QALY	1.4 million yen	6.07 million yen
Official Analysis 1	0.0248QALY	1.51 million yen	61.13 million yen
Additional Analysis (Final)	0.1370QALY	1.51 million yen	11.06 million yen

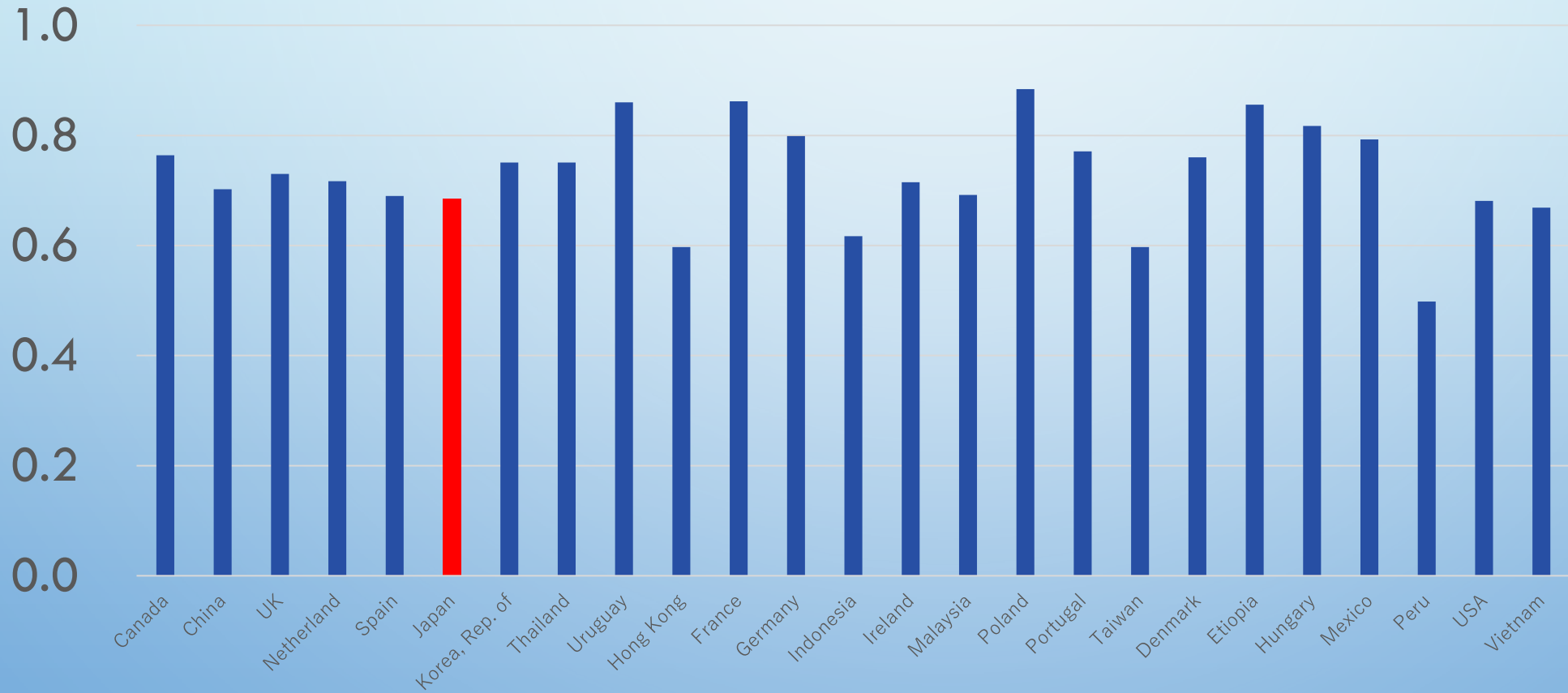
AN EXAMPLE OF UNCERTAINTY (INSTABILITY): THE MIGRAINE TREATMENT DRUG EMGALITY

	Incremental effect	Data Source for QOL Values
Company Analysis	0.2298QALY	Convert migraine-specific index using the UK conversion formula
Official Analysis 1	0.0248QALY	Use general indicators with the Japanese conversion formula as is
Additional Analysis (Final)	0.1370QALY	Convert migraine-specific index using the Japanese conversion formula

Furthermore, the comparator was set to BSC rather than existing drugs

EVEN FOR THE SAME HEALTH STATUS, SCORES VARY BY COUNTRY

Scores of "2, 1, 2, 3, 1" for the same health status



HOWEVER...

“The clinical effect is XX%”	It is unreasonable to base discussions solely on a point estimate.
The ICER is $\Delta\Delta$ ten thousand yen per QALY	Uh... okay...

When it comes out as “money,” it can give the impression that the uncertainty has been resolved.

LOW-VALUE CARE = LOW COST-EFFECTIVENESS CARE ?

Perspective
DECEMBER 23, 2010

Monetization of outcomes and QALYs or DALYs are often used to compare the value of care across medical conditions. We know that for each medical condition, the set of relevant outcomes will be different. QALYs and DALYs focus just on those outcomes that can be readily standardized — again, survival and certain generic aspects of quality of life. Once again, the validity and comparability across conditions of these measures is highly questionable.

This effort to standardize and collapse outcomes to a single measure also suffers from a deeper problem. The whole approach assumes that the value of care for each

There is strong skepticism toward the idea that “one single measure can solve everything.”

system. If value improves, patients, payers, providers, and suppliers can all benefit while the economic sustainability of the health care system increases.

on results, not inputs, value in health care is measured by the outcomes achieved, not the volume of services delivered, and shifting focus from volume to

medical condition, not the cost of individual services. To reduce cost, the best approach is often to spend more on some services to reduce the need for others.

AN EXAMPLE OF UNCERTAINTY (INSTABILITY): THE SPINAL MUSCULAR ATROPHY TREATMENT DRUG ZOLGENSMA

	ICER	Background
Results of Company Analysis	dominant	Following Zolgensma, administration of Spinraza is limited.
Results of Public Analysis	36 million yen	53.8% received Spinraza (lifetime)

The 53.8% comes from a clinical trial that included post-Zipraza administration.

The claim that “BSC was used as the comparator by Germany’s IQWiG” (false)

EMGALITY... ZOLGENSMA???

検証

(検証に関するその他の業界の意見及び対応状況)

- 評価実施時点で分析に用いたデータやエビデンスが不十分な事例はどの程度あるか。
 - ⇒ **ゾルゲンスマ**、パキロビッドの2品目では、追加のエビデンスが必要と判断され分析中断をしている。
 - 市販後に追加データが得られてから分析を実施した方が望ましいと考えられた事例はどの程度あるか。
 - ⇒ 国立保健医療科学院では分析終了後も対象品目の臨床研究データなどをモニターしているが、上記2品目以外において、新たなデータによって分析結果や意思決定が大きく変更されうる事例は見つからなかった。
 - 評価不確実性が高い分析結果を考慮した幅のある評価がなされているか、機械的な価格調整になっていないか。
 - ⇒ ICERの値を直接用いるのではなく、それに基づく区分（500-750万円/QALY等）を用いることで、幅を持たせた評価を行っている。また、透明性を担保するために、事前に決められたルールに則って価格調整を行っている。
 - 分析においてQOL尺度（EQ5D）によって、健康状態を十分に捉えきれなかった疾患はなかったか。
 - ⇒ **エムガルディ**では、EQ-5Dを直接用いるのではなく、偏頭痛の特異的尺度であるMigraine-Specific Quality of Lifeの測定値を EQ-5D-3Lに換算して調整し、費用対効果分析を実施した。
- その他の意見については、別途個別の論点において、適宜議論を行う。

Zolgensma

Emgality

COST-EFFECTIVENESS ANALYSIS OF TRELEGY FOR COPD

12 SUBGROUPS DIVIDED BY TWO INDICATORS: PRIOR TREATMENT AND EOSINOPHIL COUNT

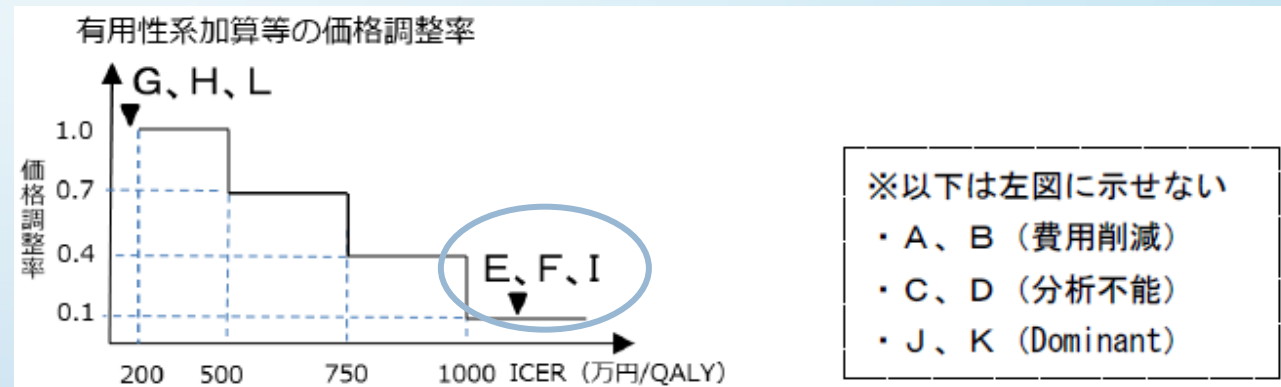
Prior treatment	Details of prior treatment	Eosinophil count		Comparator technology
		Less than 100/ μ L	100/ μ L or more	
Triple therapy	MITT (Triple therapy with two inhaled formulations)	A	B	Budesonide + Seebri
		C	D	Relvar
		E	F	Ultibro
Dual therapy	ICS/LABA	G	H	Relvar
Dual therapy or monotherapy	LAMA/LABA or LAMA	I	J	Ultibro
Monotherapy	LAMA	K	L	Relvar
Others	-	Excluded from analysis		

- Additional benefits will first be evaluated based on the subgroup analysis results of the IMPACT trial (and other literature, if available).
- The design of the IMPACT trial has been questioned internationally, so it is reasonable to adopt settings that reflect actual clinical practice.
- From a clinical perspective, it is appropriate to define the population based on asthma-like phenotypes and to use eosinophil count as an indicator.
- Since lung function and QOL are concepts encompassed within exacerbations, it is appropriate to use exacerbations as the efficacy endpoint.
- From a cost-effectiveness perspective, the cheapest product should be used as the comparator.

REFLECTION OF COST-EFFECTIVENESS IN PRICING (TRELEGY)

RESULTS FROM THE REANALYSIS OF THE PUBLIC ANALYSIS, CALCULATED USING PATIENT PROPORTIONS FROM THE NDB

Patient group	ICER (yen per QALY)	Price Adjustment Rate	Patient proportion (NDB)
A	Cost reduction	1.0	4.5%
B	Cost reduction	1.0	14.0%
C	Unable to analyze	-	0%
D	Unable to analyze	-	0%
E	Cost increase	0.1	0.1%
F	Cost increase	0.1	0.2%
G	Below 2 million yen per QALY	1.0	14.0%
H	Below 2 million yen per QALY	1.0	40.2%
I	Cost increase	0.1	6.5%
J	Dominant	1.0	19.7%
K	Dominant	1.0	0.2%
L	Below 2 million yen per QALY	1.0	0.7%



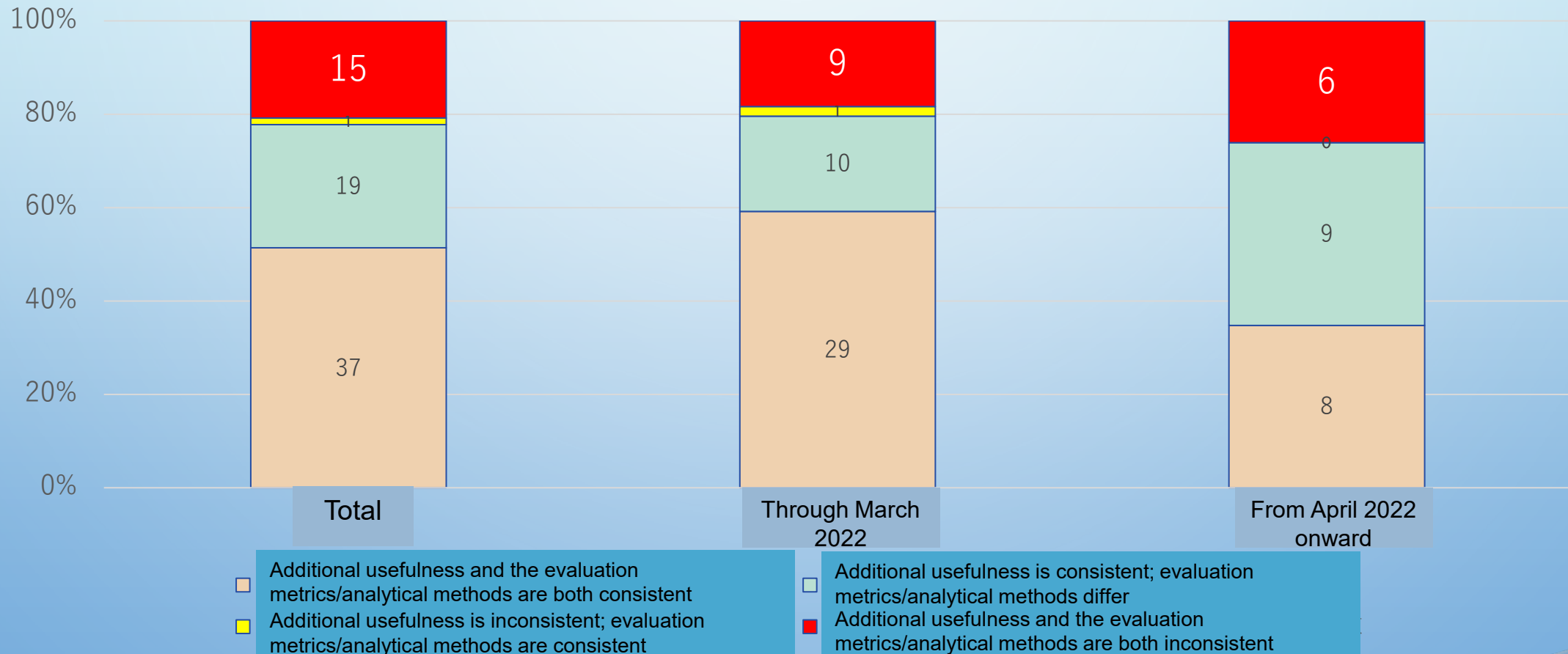
The three subgroups E, F, and I (6.7% of the total) received a 90% reduction, resulting in an overall adjustment of -0.55%.

The H5 products—VirezuTri, Enagia, and Trelegy 200—were also included together (effective July 1, 2021).

Excerpt from the March 24, 2021, MHLW Central Social Insurance Medical Council (Chuikyo) meeting materials

Whose are the results of the reanalysis based on the public (university) analysis?

Analysis of the Degree of Alignment between Public-Sector and Corporate Analyses(Yuasa et al.)



WHAT DOES “OBJECTIVE” AND “VERIFICATION” MEAN?

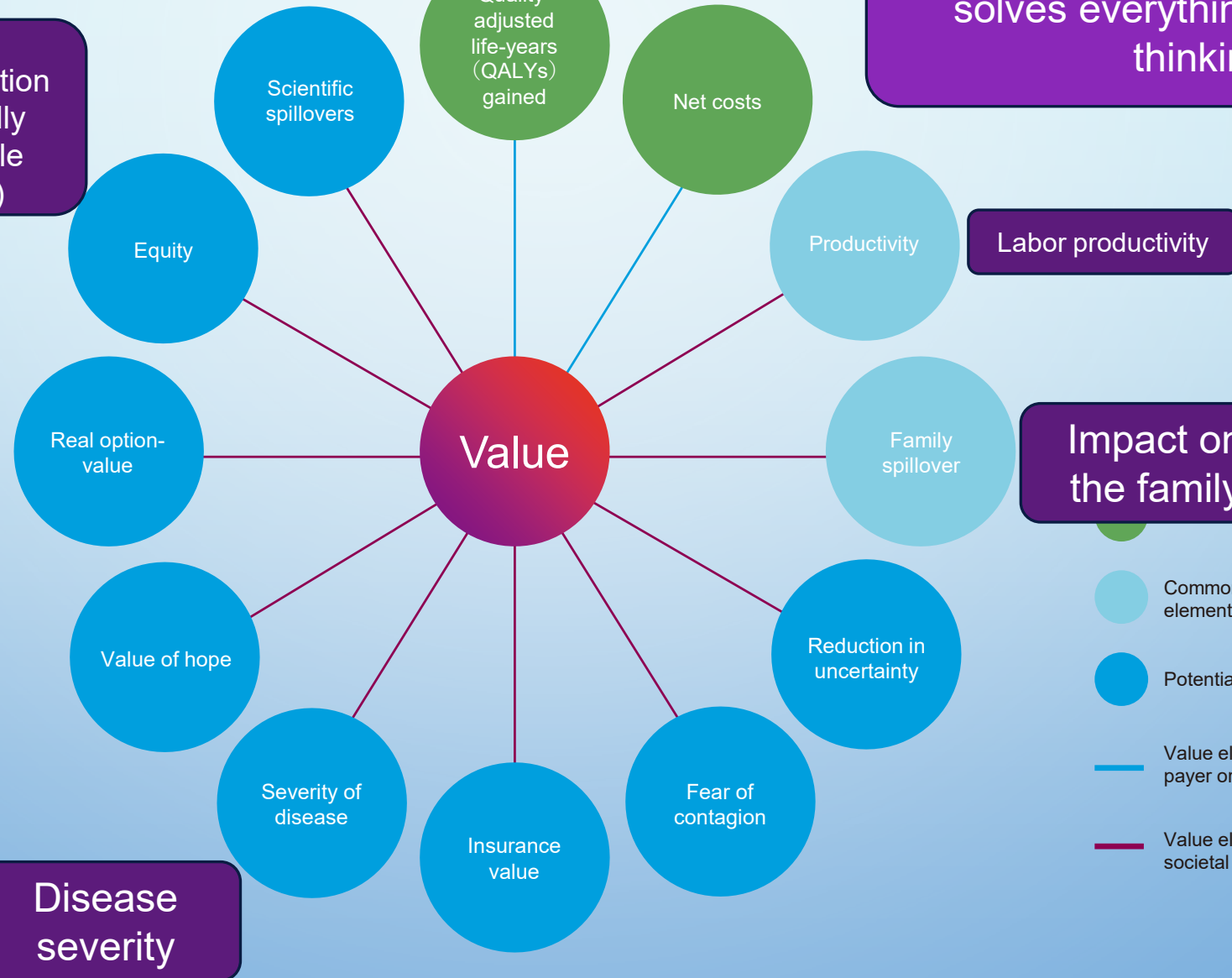
Objective	<ul style="list-style-type: none">× Mechanically listing results× Data from the evaluation agency?○ The validity of the evaluation itself
Verification	<ul style="list-style-type: none">× Reporting results as-is○ Checking including the process

WHAT ARE THE VARIOUS “VALUES”?

Challenge : map each element into an underlying economic framework for value assessment.

Supplementary Materials

Equity
(consideration for socially vulnerable groups)



The notion that “COST/QALY solves everything!” is wishful thinking.

Labor productivity

Impact on the family

Disease severity

WHAT ARE THE "BIG ELEMENTS" IN RARE DISEASES? (STUDENT QUESTIONNAIRE, N=223)

あなた自身が、生まれたときから今回紹介した病気にかかっていると想像してください。どんな大変なことがあると思いますか？思いついた順に3つ挙げて下さい。			将来、あなたの子供が、生まれたときから今回紹介した病気にかかっていると想像してください。どんな大変なことがあると思いますか？思いついた順に3つ挙げて下さい。		
1.	2.	3.	1.	2.	3.
気持ち的にきつい	経済的な負担	就職しづらい	精神的にきつい	経済的にきつい	就職しづらい
健康な人と比べてできることが少	親への負担	自分の将来がわからない	かわいそう	一生面倒をみてあげられない不安	どうしてうちの子が
劣等感	家族への後ろめたさ	苦痛	将来の不安	経済的負担	子供への申し訳なさ
精神的苦痛	親への負担	周囲の目	子どもの同級生との関係	経済的困難	親に対する周囲の目
運動できない	周りに気を遣われる	呼吸しづらい	余命	通院	服薬
ご飯が食べれない	お風呂にはいれない	体勢を変えるのが難しい	ご飯を食べさせずらい	つきっきりで見ないといけない	書く練習をさせるのが難しい
運動	通学	何気ない行動でも動きにくさを感じ	自分が付き添っていなければいけ	自分が居なくなった後の将来が心	交友関係
人とのコミュニケーション	不安、心配な気持ち	いつも人を心配させてしまうと思	体力不足	時間	お金
とても辛い	将来に不安を感じる	周りの目	子供の将来	いじめや差別	生活しづらい
とても辛い	生きにくい	治療費がかかる	治療費がかかる	いじめや差別	大変
医療費かかる	生活しづらい	周りの目を気にする	医療費かかる	介護必要	自分を追い込んでしまう
生活の不便	通院に取られる時間	処方薬の負担	周りとのギャップ	自分たちの不甲斐なさ	将来への不安
筋肉が思うように動かないため、	毎日管をつなげ、外出しづらい	車イスを毎日使うのが大変	学校に行かせるのが難しい	食事や日常生活のサポート	寝る時なども気を配らないといけ
身動きが制限されている	友達と遊びに制限がある	食事制限がある可能性がある	周りと同じ職業につけるか不安	いじめが起こるかもしれない	本人が気にするかもしれない
周りと同じようなことができない	歩くだけで息苦しいなど日常生活	自分の病気に対して今後自分がど	病気に対しての不安な気持ちへの	どういったことをするのが子供に	周りから言われてしまうような言
悲しいと思う	周り自分を比較しちゃって辛く	両親にイライラしちゃう	すまないと思う	悲しい	辛い
病気の苦しみ	家族など周りの負担	入退院、通院など	本人や私たちの精神的不安	金額	入退院、通院の時間
生活しづらい	就職しづらい	精神的負担	生活しづらい	就職しづらい	いじめられるかもしれないとい
健常者と同じような生活ができず	筋力低下、呼吸機能低下によって	根本的治療がないため死ぬまで辛	金銭的負担が大きい	患者数が少ないためコミュニティ	子供に辛い思いをさせて申し訳な
思うように意思疎通ができない	体力がなく身体を自由に動かせな	家族に負担をかけてしまう	目を離せない	治療が続く不安	将来の不安
呼吸が難しい	まわりと同じ生活を過ごすのが難	体力がつきづらい	学校などで子供がまわりとの差を	お金がかかる	メンタル面を支えてあげる必要が
周りの人との差	普段の生活	親を恨みたくないが恨んでしまう	可哀想	世話	自分が老後の時の世話の心配
毎日管を付けるのが大変	筋肉が思うように動かない	お金がかかる	常にそばにいないといけない	周りの理解が大変	仕事ができない
学校に通うことが困難	したいことができない	就職ができなそう	子供の気持ちを汲み取ることがで	周りの子供との違いに悩みそう	自分が育てられなくなった時にど
動けない	死ぬ可能性が高い	日常生活が満足に送れない	どこまで生きるかの不安	医療費	子供が辛いのを見ること
いじめ	治療費	体への負担	いじめ	メンタルケア	治療費
歩くのが大変	介護が必要	できないことが増える	治療費かかる	仕事につけるか	精神的不安
最低限の生活	外部との関わり	思うように体を動かせない	育児	お金	精神的な問題
家族に迷惑がかかる	治療費が高い	1人では何も出来ない	治療費が高い	精神的苦痛	子どもを大切に育てられるかわか
自由に動けない	周りの人に迷惑をかける	親に心配をかけてしまう	自由に遊べない	自分が死んだ後の心配	世話
運動の制限	治療	人に迷惑をかけてしまう	子供の気持ちを考えること	周りと同じようにさせられない	治療費
日常的な生活	運動	自分の好きなこと・娯楽	親が亡くなったあとの子供の将	危険が迫った時にそばにいないキ	日常生活の世話
毎日管をつけるのが大変そう	筋肉が思うように動かない	自由に旅行に行けない	毎日目を離せない	自由に旅行に行けない	仕事が出来ない
友達と一緒に遊べない	誰かの助けが必要になる	後ろ向きな気持ちになる	自分よりも先に子供が亡くなる	自分の時間が少なくなる	子供に我慢をさせてしまう
リハビリ	日々の生活	当たり前の生活ができない点	常に隣にいてくなくてはならない	食事運動の管理	交友関係(友達など)
精神的負担	生活が困難になる	就職が困難になる	精神的負担	生活しづらい	行動が限られる
常に人工呼吸器をつけての生活	友人と同じように遊んだり、喋る	他者と違うことに精神的に追い詰	子供の一生に付きっきりになり自	子供の学校は何処を選ぶべきか分	人間関係を上手く作れるか心配

What is the burden of disease and the value of treatment?
"First of all, there is a cost."
"First of all, there is QALY."
Not in

WHAT ARE THE "KEY VALUE FACTORS" IN RARE DISEASE TREATMENT? (STUDENT QUESTIONNAIRE, N=223)

#	Value aspect	Explanation*
1	outlay	Costs associated with hospital visits, treatment, and nursing care will be lower.
2	labour productivity	You can work, you don't have to quit your job, and you can prevent a decline in your work performance.
3	Insurance value	As treatment options for various diseases increase, the meaning and importance of insurance increases.
4	QoL	Higher Quality of Life (QoL) over the lifetime
5	Family burden	Family members also have less physical and mental burden (higher QoL, longer working hours, etc.)
6	Severity	In the case of a serious disease, it is important to be able to prolong life. (The meaning of being able to extend the life of a person who dies now for one year is different from extending the life of a person who can live for another 10 years.)
7	Hope Value	In rare cases, it is meaningful to be able to provide the prospect of cure, even if it is a slight possibility,

#	Value aspect	Explanation*
8	Growth and Development	If there are restrictions on life from birth, it is valuable to be able to grow while participating in society, such as going to school like everyone else, through treatment
9	Uncertainty	It is valuable to reduce the uncertainty of the effectiveness of treatment (being able to determine in advance who is likely to be likely to work with this drug can increase the likelihood of working)
10	choice	If you live as long as possible through treatment, you can expect to be able to use more effective treatments in the future due to technological advancements.
11	Scientific ripple effects	Innovative treatments can lead to the discovery and development of more effective treatments in the future
12	Unmet Needs	It is more meaningful to develop treatments in areas where there are no effective treatments than to develop in areas where treatments already exist. (It is important to see how well the patient's needs for medical care are met)
13	Fairness	We should not only ensure that everyone is provided with medical care equally, but also give priority to treatment for those who are already at a disadvantage. (If a socially vulnerable person gets sick, it can be even more painful.)
14	Rarity	People with rare diseases with a small number of patients will be given higher priority than those with common diseases

	01. Fees	02. Labor Productivity	03. The value of insurance itself	04. Quality of Life	05. Family Burden	06. Disease Severity	07. The value of bringing hope	08. Impact on Growth and Development	09. Reduced treatment uncertainty	10. Expectations for Future Treatment Excellence	11. Spillover effects on next-generation therapeutic development	12. Eliminate unmet needs	13. Equity and fairness	14. Rarity of the disease
1st place	12.82%	0.00%	0.43%	50.43%	5.13%	11.97%	7.26%	4.70%	0.85%	1.71%	1.71%	1.28%	1.28%	0.43%
2nd place	14.59%	1.72%	2.58%	14.16%	24.03%	11.16%	6.01%	9.44%	4.29%	3.00%	3.00%	0.43%	4.72%	0.86%
3rd place	18.45%	3.86%	1.72%	10.30%	20.17%	8.15%	6.87%	11.59%	2.58%	4.72%	3.00%	1.72%	5.58%	1.29%
4th place	13.73%	4.72%	2.15%	6.44%	15.88%	5.15%	7.73%	14.59%	7.73%	9.44%	2.15%	2.15%	5.58%	2.58%
5th place	13.73%	6.44%	5.58%	6.44%	10.73%	6.01%	9.01%	6.87%	4.72%	11.16%	7.30%	1.72%	7.30%	3.00%

How to deal with the financial burden of cancer patients

item	United States (N=254)	Japan (N=153)	Japan (N=510)
Reduced amount of prescribed medication used	48 (19%)	4 (3%)	31 (6%)
Received a prescription but did not receive the medicine	62 (24%)	1 (1%)	
Reduced the number of medical examinations and anticancer drug treatment	19 (7%)	4 (3%)	
Did not have the recommended tests (e.g., CT scan)	23 (9%)	0 (0%)	-
Did not receive or changed the recommended anticancer drug treatment	17 (7%)	3 (2%)	45 (9%)
Reduced food and clothing costs	118 (46%)	42 (28%)	105 (22%)/144 (30%)
Reduced leisure activities (travel, dining out, movies, etc.)	173 (68%)	67 (44%)	114 (24%)
Cut down savings	117 (46%)	95 (63%)	166 (35%)
Sold assets	42 (17%)	5 (3%)	23 (5%)
I went into debt	90 (35%)	3 (2%)	59 (12%)
I increased my work time	30 (12%)	12 (8%)	30 (6%)
Family Increases Work Time	37 (15%)		-
Extended hospitalization to obtain insurance money	6 (2%)	1 (1%)	-

What is Prioritized and Deferred Healthcare?

Clearly less effective medical care

Substitutable minor treatments?
Self-medication

Preventive care
Vaccination, health promotion, etc.

Change in the copayment rate itself

Other Cost Reduction Measures: Promotion of Self-Medication

Year	Drug Costs	Other Medical Costs (Initial/Revisit Fees, Dispensing Fees, etc.)	Narrowing of Target Diseases	Narrowing of Target Patients	Representative Figures
2020 (Joint with OTC)	Included	Included	Existing 6 disease areas + Expanded 5 disease areas	No duplication with severe comorbidities + No disease name overlap when calculating medical expenses	Existing: 230 billion yen Expanded: 90 billion yen Total: 320 billion yen
2022 (R3 Study)	Included	Not included	No narrowing	No narrowing	Applicable total: 330 billion yen Component total: 650 billion yen
2024 (R6 Study)	Included	Included	Five lifestyle-related disease areas	Stable single-drug use for more than one year + No disease name overlap when calculating medical expenses	5 areas total: 110 billion yen Hypertension & Dyslipidemia expansion: 150 billion yen

Comparison of Insurance Medical Expenses (30%/10% Copayment) and OTC Payment Amounts (2020 Analysis)

