



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

2019年1月



# 医薬品等の費用対効果評価、 2019年度を視野に本格導入へ

費用対効果評価制度は、保険償還決定後の医薬品等に対する適正な価格（薬価）算定を補う仕組みとして、2019年度の本格導入を視野に、厚生労働大臣の諮問機関である「中央社会保険医療協議会」（中医協）で議論が進んでいます。中医協では費用対効果評価に関する議論を2011年に開始し、2016年から一部の医薬品等に対する試行導入が始まりました<sup>1</sup>。試行導入では、後にノーベル医学・生理学賞（2018年）受賞で注目された抗がん剤「オプジーボ」等の画期的新薬が対象になっています。現在は費用対効果評価制度の本格導入に向けた結論を2018年度中に得るため、中医協で検討が進められています。

## 費用対効果評価とは何か

費用対効果評価は、「医療技術評価」（HTA）と呼ばれる、政策決定を行うための科学研究の一つです<sup>2</sup>。国際医療技術評価学会（HTAi）は、HTAについて「当該医療技術特有の医学的背景及び利用可能な代替選択肢を考慮に入れ、医学的、経済的、組織的、社会的、法的そして倫理的な観点から当該技術の影響を評価する学際的領域」と定義しています。

費用対効果評価では、「透明性、体系性、科学的妥当性」が担保されたプロセスと手法を用いて、新規と従来の医薬品・医療機器の価値を評価する必要があります。

例えば、がん治療において、従来は抗がん剤Aが使用されていたところに、画期的な抗がん剤Bが新たに登場したとします。費用対効果評価では、抗がん剤がAからBへ置き換わった場合に、医療費を中心に「費用」がどれほど異なるのかという視点と、患者さんがどの程度健康に長生きして生活の質（QoL）をどれだけ改善するのかという「効果」の視点を組み合わせて評価します。評価指標としては、AからBへ置き換えた場合に、費用と効果がどのくらい増えたのか、それぞれ増えた分の差を比較する「ICER（増分費用効果比）値」を使います。

ICER値は、生存年とQoLを掛け合わせた質調整生存年（QALY）という単位を使用し、医薬品の価値を「XXX万円/QALY」という形で、1年間健康に生きるためにどれだけの費用を追加で支払う必要があるか擬似的に示すことができます。

## 費用対効果評価における懸念

しかし、医薬品の価値は、ICER値や数式を使って機械的に示せるほど簡単なものではありません。例えば、「がん治療（薬）に対する医療費はXXX万円を超えると費用対効果評価が良くない」と判断するためには、「医療とはどうあるべきか」等の国民を巻き込んだ議論が欠かせません。

また、薬剤の費用対効果評価を行うにあたっては、「ICER値の幅」や「選定される比較対照薬」などの不確実性をどのように解決していくかという難しい問題があります。

ICER値は薬剤の効き目を測るために対象とされる患者

集団の違いや効き目の評価方法によって値が大きく異なります。ICER値を決めるために参考にすべき研究が複数ある場合、ICER値を1つに定めることが難しくなります<sup>3</sup>。

現在検討されている制度上ではICER値によって、薬の価格（薬価）に対しての加算率を調整することが考えられています。加算率を調整するために、500万円/QALYなどの基準が設定されていますが、これは「1年間健康に過ごすためにいくら支払えるか」という国民の支払い意思額を調査した先行研究に基づいて金額（閾値）設定されたものです。一方で、こうした金額設定では400-600万円/QALYなどICER値に幅がある場合には、価格設定が難しいと医療経済の専門家からも指摘を受けています<sup>4</sup>。

「選定される比較対照薬」については、比較対照薬によって費用対効果評価の結果が変化するというものです。しかしながら費用対効果評価ガイドラインでは比較対照薬やその評価方法は断定されておらず<sup>3</sup>、これに関する問題は試行導入の段階でも課題として挙げられており、検討が続けられています。

現在検討されている費用対効果評価の流れ（図1）には、ステークホルダーの参加が限定的で、諸外国で認められている患者さんの直接的な関与はありません。英国などの費用対効果評価制度には患者団体の意見を反映する仕組みがあり、患者さんには医薬品等へのアクセス（患者アクセス）などを改善するための意見表明の機会が与えられています。

また、本格導入を巡る検討の中で、「イノベーション評価」が外される方向になっています<sup>5</sup>。英国などは新薬の画期性（イノベーション）についても、ICER値などで評価しきれない社会的・倫理的考慮要素として評価の対象となっています。

## 薬価制度と重複の可能性

日本には従来から「薬価基準制度」（薬価制度）が存在し、費用対効果評価制度との重複が指摘されます。例えば薬価制度には、新薬の薬価を決める際、類似する既存薬と比べてその有用性等を評価して加算するルール（類似薬効比較方式）があります。これはHTAに類似する概念に基づいた薬価算定と言えます。一方、費用対効果評価制度はこのようなルールに基づき決まった薬価（加算）を事後に再び調整することを目的に本格導入の検討が進められているため、いわば「二重のHTA」を行う可能性があります。

図1: 本格導入時の費用対効果評価の流れ<sup>6</sup>



1. 鎌江伊三夫(2016)医療技術評価ワークブック 臨床・政策・ビジネスへの応用。じほう  
2. 東美恵(2013)医療技術評価（HTA）の諸外国での利用状況と課題 JPMa News Letter No.153  
3. 白岩健(2013)「医療経済評価研究における分析手法に関するガイドライン」の解説 保健医療科学 Vol.62 No.6 p590-598  
4. 中央社会保険医療協議会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(第11回)(2018,11,7) 費用対効果評価に関する検討について 費薬材-2 [https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220\\_00002.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220_00002.html)

5. 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会(2017,8,9) 費-1 <https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000174273.html>  
6. 中央社会保険医療協議会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(第12回)(2018,11,21) 費用対効果評価に関する検討について 費薬材-6 [https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220\\_00003.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000211220_00003.html)

## 諸外国の状況と日本への教訓

すでにHTAを導入した諸外国では様々な課題が指摘されており、日本が学ぶべき教訓が多くあります。各国で共通する課題は、「患者アクセスへの悪影響」「患者さんのHTAへの関与が一定程度制限されている」などです。一部の国では制度の透明性が低いことも指摘されています。(図2)

特に英国など医療経済評価に重点をおいた国では、HTAに基づき、新薬の保険償還に関して「推奨」「非推奨」等を判断し、患者アクセスの制限につながる場合が報告され、このような状況はしばしば、社会問題化しています<sup>2</sup>。例えば、英国では新しい乳がん治療薬の導入の遅れが報じられています<sup>7</sup>。

日本では、国民皆保険制度の理念に基づき、国が販売

を承認した医薬品は原則としてすべて保険償還の対象になっています。また、中医協では本格導入の検討が進む費用対効果評価制度を「保険償還の判断には用いない」ことが確認されています<sup>8</sup>。

諸外国の事例からは、「患者アクセスを制限しないこと」、「患者さんや医師など全ての『ステークホルダー』が政策決定過程に関与できること」、そして「医薬品等の費用対効果の経緯や根拠が明確化された透明性の高い制度」などを適切に日本に取り入れていくことが教訓として示唆されます。特に「ICER値」のみに過度に依存しない医薬品の価値評価を行い、患者さんのニーズと国民皆保険制度の理念のバランスを保つことのできる制度設計が重要と考えられます。

図2: 諸外国のHTA制度

	 フランス	 ドイツ	 イギリス	 スウェーデン	 韓国	
HTA機関	機関名	HAS	G-BA/IQWiG	NICE (+CHTE)	TLV	HIRA
	職員数	400	120/160	613	125	20
	予算	51M Euro 65.3億円	40M Euro (G-BA) 51.4億円 (G-BA)	54.7M Pound 76.9億円	155.74M Krona 19.5億円	1.3B Won 1.3億円
導入年	2013	2011	1999	2002	2006	
アクセスへの影響	少し影響あり	少し影響あり (評価方法が不透明であり、新薬の販売を見送る企業が現れている)	影響あり (費用対効果評価による医薬品の価格低下により、販売を見送る企業がある。保険償還の可否に使用しており、患者アクセスに制限がある)	影響あり (HTAのための書類が膨大かつ厳格で、企業による準備が煩雑なため、患者アクセスに制限がある)	大きな影響あり (保険償還と価格設定に使用し、審査・プロセスの遅延がある。不十分な経済評価により企業の開発インセンティブが阻害される)	
評価対象薬剤	財政規模の大きい医薬品	ほとんどすべての新薬 (病院で使用されている薬剤は対象外)	国が選定した医薬品 (新規・既存どちらも)	すべての新薬・既存の医薬品は個別に選定	すべての新薬	
患者さんの関与	原則なし	ある程度の関与あり	ある程度の関与あり (患者さん・患者家族の意見表明のプロセスをガイドライン上で明記)	ある程度の関与あり	原則なし	
透明性	普通 (透明性に関する委員会があり、2週間ごとに会議が行われる)	低い (費用対効果評価における問題点や評価の中間プロセスが公表されていない、最終報告の公表が遅い)	高い (すべての中間結果と評価に関する注釈が各プロセスごとに公表される)	低い (プロセス全体が公表されておらず、プロセスの最後に短い要約が公表される)	とても低い (不十分、不透明な経済評価)	

7. The Telegraph (2016) <https://www.telegraph.co.uk/news/2016/11/03/joy-as-first-breast-cancer-drug-approved-for-widespread-use-in-uk/>

8. 中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会(第41回)(2017,6,28) 費用対効果評価に関する検討について 費薬材-1 <https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000169311.html>

## EFPIA見解 - 費用対効果評価の4原則

欧州製薬団体連合会（EFPIA）は、欧州を含む諸外国でのHTAに関する豊富な経験に基づき、日本における費用対効果評価制度に対する以下の4原則を提案します。

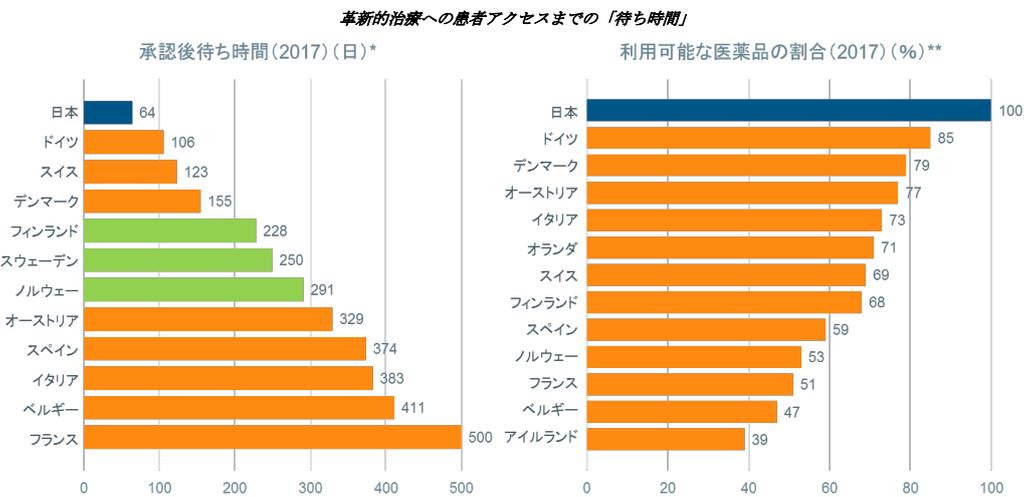
1. 患者さんの医薬品アクセスを守るため、保険償還の可否判断に用いない。
2. 費用対効果評価は薬価制度に対する補足的ツールとして用いる。
3. 数字では表せない医薬品の倫理的・社会的な価値を長期的な視点で評価する。
4. 総合的評価（アプレイザル）に全ての「ステークホルダー」が参加でき、透明性を確保する。

### ドラッグラグを再燃 させてはいけない

日本では近年、諸外国で承認された医薬品が国内で使用できない「ドラッグラグ問題」が解消されています。EFPIAの調査では、販売許可後に患者さんが対象の医薬品を使用できるまでの時間は日本が最も短いことが明らかになるなど、日本の患者アクセスは世界に誇るレベルです（図3）。

しかし、費用対効果評価制度が将来、医薬品の保険償還の可否判断に用いられることがあれば、再びドラッグラグ問題を引き起こす可能性を否定できません。

図3: 欧州・日本-患者のW.A.I.T.指標



Source: EFPIA Market Access Delays Analysis (2018)

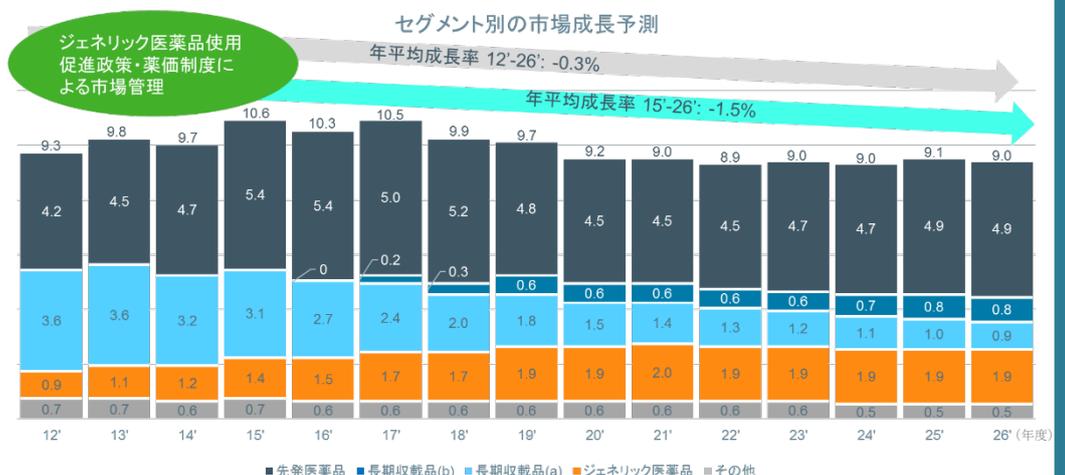
\*いくつかの医薬品は保険償還でカバーされていないため、保険償還でカバーされていない医薬品は「待ち時間」がない。そのため、それらの医薬品が不自然に平均の「待ち時間」を短くしている。  
フランスでは競合のない革新的な医薬品は一時的な許諾によって市場に早く出すことができる。この分析では、それらの医薬品を考慮にしていないため、実際の「待ち時間」より高めの数値が出ている。  
「待ち時間」は医薬品に対して、EUでの販売許可（欧州経済領域でない国の場合には有効な販売許可）が出た日から医療機関などで患者さんが医薬品を使用できるようになるまでの日数である。  
日本の「待ち時間」は基本的に60日であり、薬価改定のあるタイミングの収め90日であるため、これらを加重平均した数値を使用している。

\*\*利用可能な医薬品の割合は、医薬品が保険収載された時点での患者さんが利用できる医薬品の割合を表したものである。

### 薬剤費は十分に 管理されている

日本の薬剤費は、新薬の特許切れに伴い製造が可能になる安価な後発医薬品（ジェネリック医薬品）の使用促進政策と現在の薬価制度によって十分に管理され、今後も適切に管理され続ける予測結果が、最近のEFPIAとIQVIA社の共同研究で明らかになっています（図4）。2026年までの国内医療用医薬品市場の年平均成長率は概ね減少し、薬剤費が急激に増加しない予測が示されています。

図4: 薬剤費は十分コントロールされており、医薬品市場の年平均成長率は-1.5%で推移すると予測される（1兆円単位）\*1,2



Source: IQVIA Japan IMS Base JPM

\*1: 長期収載品とは、ジェネリック医薬品のある先発医薬品のこと。図4中の (a) は2016年以前にジェネリック医薬品が上市されたもの。同 (b) は2017年以降にジェネリック医薬品が上市された、あるいは、される予定のもの。

\*2: 新薬創出加算の継続、ジェネリック医薬品の80%達成、長期収載品とジェネリック医薬品のかい離率の大きい製品の毎年改定等の条件を仮定した。