



European Federation of Pharmaceutical
Industries and Associations

持続可能な創薬イノベーションエコシステム 構築のための効果的な医薬品費用対効果評価

EFPIA Japan

2024年6月7日

作成協力者：EY ストラテジー・アンド・コンサルティング株式会社



持続可能な創薬イノベーションエコシステム 構築のための効果的な医薬品費用対効果評価

概要

- 2019 年度の本格運用開始以来、費用対効果評価制度は 2 年に 1 回更新されることにより費用対効果評価制度は急速に整ってきました。2024 年度の改定においては、費用対効果評価制度の透明性は高まったものの、依然として課題に直面しています。例えば、プロセスが不透明であり評価対象品目の選定基準が曖昧であること、費用対効果の判断のための科学的根拠が不十分であること、今後価格調整範囲が拡大されるとイノベーションに対するインセンティブが機能しなくなる可能性があること、患者の関与が限定的であること等が挙げられます。そのため、更なる最適化が必要です。
- 産学官民が連携して、患者中心の制度を整備し、保険者と産業界との定期的な対話を促し、すべてのステークホルダーの関与をより増やしていくことで、制度をより改善することができると思っています。
- 費用対効果評価制度のさらなる最適化により、患者、保険者、及び産業界の利益を持続可能な方法でバランスさせることにより、長期的に持続可能なイノベーションを推進することができると思っています。

1 日本における費用対効果評価 制度の概要

創薬イノベーションエコシステムを効果的かつ持続可能に推進するためには、患者と保険者の利益のバランスを取ることが極めて重要です。これにより、患者は

最適な医療を適正な価格で受ける一方で、製薬企業も将来の治療法の開発に投資するための十分なインセンティブが与えられます。費用対効果評価や臨床効果評価などの異なる方法によって、医療技術等のコスト（そのものの費用や、技術を用いる際の費用等も含む）と影響を体系的

に評価する Health Technology Assessment (HTA)を用いることでこれらを実現することができます。

本邦の費用対効果評価制度は、HTA の一つとして、薬価制度を補完するものとして導入され、上市後の薬価調整に利用されています。2016 年度に初めて試行的導入がされ、2019 年度より本格的に開始されて以来、評価対象として選定された医薬品は 50 品目に過ぎず、まだ初期段階にあります。日本では承認された医薬品は原則的に国民皆保険のもとで患者に提供されるため、費用対効果評価の結果は上市後の薬価調整のみに使用されています。この点において本邦の費用対効果評価制度は、海外の主要市場の HTA とは根本的に異なります。費用対効果評価を実施しても、他国と異なり、患者の医薬品へのアクセスに基本的には影響しません。

費用対効果評価制度は、超高齢化ならびに人口減少が待ち構えている日本の将来の医療のあり方を形作る上で重要な役割を果たしているため、2019 年度の本格導入以来、多くの議論がなされてきました。その結果、政府は、医療費が膨らむ一方で社会保険料を支払う人が減少している状況を踏まえ、財政負担を軽減策として費用対効果評価制度を位置づける方法を模索しています。また、日本の医薬品市場の成長は、他の主要市場に比べて大きく遅れをとると予測されており（2023 年から 2027 年にかけての世界全

体の成長率が 2.5～5.5%であるのに対し、日本は 0.3%）、さらなるイノベーションが求められています [1]。実際のところ、世界シェア約 5%で医薬品市場第 3 位の日本は、2026 年までにドイツにその地位を奪われる可能性が高まっています。これらを鑑みると、安定的で持続可能な、将来を見据えた医療制度を構築するためには、コストとイノベーションのバランスが取れる費用対効果評価制度となるよう、制度を継続的に改善する機会を追求することが重要であると考えられます。

2 現行の費用対効果評価制度の課題

プロセスが不透明で、選定基準が曖昧であること

現行の費用対効果評価運用における主な課題の 1 つは、透明性と予測可能性が低いことです。最新のルールの確認は容易ではなく、ルールに記載されている項目の中には定義が明確でないものが見受けられます [2]。プロセスが不透明であることに加え、一部の見かけ上矛盾した定義がどのように対処されるかも不明確であり、産業界の関係者にとっては、自社製品が評価の対象となりうるか否かを予測することが困難です。

ルールが曖昧な例としては、費用対効果評価制度の対象となるものは市場規模が大きい（ピーク時予測市場規模（薬価ベース）が50億円以上）医薬品、又は著しく単価が高い医薬品に適用されると記載されていますが、「著しく単価が高い」の正確な定義が明記されておらず、中医協（中央社会保険医療協議会）総会の判断に委ねられていることが挙げられます。費用対効果評価の対象となる医薬品が中医協の裁量によって決定されることから、費用対効果評価制度のプロセスの透明性と予測可能性に悪影響を及ぼしています。

また、費用対効果評価の対象選定基準が曖昧であると捉えられる例として、現行の費用対効果評価では、治療方法が十分に存在しない疾患のみ等に用いられる品目及び小児のみに用いられる品目は、対象から除外されています。しかしながら、これらの対象外とされた医薬品が、市場規模が大きい、又は著しく単価が高い医薬品とみなされた場合の対応については詳しく述べられていません。2024年度のガイドライン更新では、「治療方法が十分に存在しない稀少疾患」から「治療方法が十分に存在しない疾患のみ等」へと変更され、その背景の1つとしては、希少疾患用医薬品は著しく単価が高い医薬品であることが多いためと考えられます。

治療方法が十分に存在しないか否かが曖昧な疾患に対する医薬品で、著しく単価が高い医薬品の事例としては、費用対効果評価の結果により最初に薬価が引き下げられた品目である再生医療等製品（細胞治療）が挙げられます [3]。対象となる細胞治療は、薬価が約3265万円※に設定されており、「著しく単価が高い医薬品」と分類され、他に適応を持つ薬剤がない希少疾患を治療するにも関わらず、費用対効果評価の対象となっています。このように治療に使用されている第一選択薬（この場合は化学療法）が対象疾患に適応を持たない薬剤である場合、「十分な治療方法」と見なされるかが曖昧にも関わらず、価格をもとに費用対効果評価の対象となったように見えます。

単価が著しく高い点に重点が置かれて費用対効果評価の対象となったことは、産業界、特に革新的な治療や希少疾患治療に重点を置く小規模のバイオテクノロジー企業等にとって懸念材料となりえます。解釈の余地を残す曖昧なルールがあると、希少疾患に対する将来の革新的治療がいつ、どのように費用対効果評価の対象となるかが、不明確になります。このことにより、投資対効果を評価する側にとって、市場の魅力が低下していると捉えられ、投資控えにつながり、結果として「ドラッグラグ・ロス」問題を悪化させ、ひいては、患者に直接影響を及ぼすことになりかねません（図1）。

※注：単回投与。2024年4月時点。

【図1】 妥当性を欠く費用対効果評価によって悪化するドラッグ・ロス問題



ドラッグ・ロスは、海外で既に使われている治療薬が日本では開発が行われず、日本で使うことができない状況を指します。（通常、承認審査の遅れや、国際共同治験に日本が含まれていないことが原因です。）2023年11月現在、ドラッグ・ロスに陥っている医薬品86品目のうち39品目が、日本ではその病気に対する既存薬がありません。
費用対効果評価が妥当でない場合、市場の魅力へ悪影響を及ぼし、その結果臨床開発段階に日本を含めことや投資家の投資意欲を低下させることに繋がり、ドラッグ・ロス問題を助長させる可能性があります。

費用対効果の判断のために用いる科学的根拠が不十分であること

医薬品が費用対効果評価の対象として選定されると、その費用対効果は、指定された比較対照治療に対する増分費用効果比（ICER）として計算されます。ICER計算の妥当性は比較対照として選択された医療技術等に大きく依存します。また、生産性の向上や介護者の負担軽減等の社会的価値評価をいかに分析し、評価に取

り入れるか等は継続的に議論が必要と考えられます。

ルール上は明言されていないものの、実際の運用においては、比較対照治療の使用状況、比較対照の妥当性は十分に検討されずに、適応症や薬効分類の中で最も安価な治療法が選択されることが多くあります。一例として、あるGLP-1受容体作動薬の費用対効果評価は、全ての分析対象集団において最も安価なものが比較対照技術に設定されました。比較対照技術に設定されたものは医師の処方シェアが2%で最も低かったことを鑑みると、比較対照技術として妥当性が低いことが明らかです [4]。

2024年度の費用対効果評価ガイドラインの更新では、比較対照技術の選定のあり方について追加がなされ、上述の懸念を一部解消しています [5]。具体的に、「臨床的に幅広く使用されている」とは、使用量のシェアで一律に決めるものではなく、診療ガイドラインに記載があるなど臨床的に標準的な治療として用いられていることと定義する形に改定されました。これにより、最も適切な比較対照を選択するための意思決定がよりしやすくなると考えられる一方で、医療経済学者 [6] や EFPIA が以前出版したホワイトペーパー [7] でも触れているように、比較対照技術の選定に関する科学的根拠や理論的根拠が不足していることから、費用対効果評価の結果に関する科学的妥当性が危

ぶまれるという懸念も残っています。

HTA の学術的な価値は、実施可能なあらゆる医療技術の費用対効果を分析し、患者と保険財政にとって最もバランスがよい医療技術を可視化することであるという点を踏まえると、費用対効果の分析に向けて科学的根拠を確固たるものにするためにはこれらの懸念を解消することが不可欠です。

今後価格調整範囲が拡大されると費用対効果評価の価格調整とイノベーションインセンティブのバランスを保つことが困難なこと

費用対効果評価の価格調整範囲を拡大するという最近の議論に潜在的な課題が提起されています。費用対効果評価は現在、薬価の加算部分に適用されていますが、中医協は市場規模が1500億円（薬価ベース）を超える著しく単価が高い医薬品に関して価格調整範囲拡大の姿勢を示しており、アルツハイマー型認知症の新薬へ「特例的な対応」を採用することを発表しました [8]。この措置では、ICERの基準値を500万円/QALYとして、薬価を85%まで減額するか、110%まで増額するかを決定する基準とします。中医協は、この対応を現時点では特例と位置付けているものの、今後、より広範囲に適用する可能性があります。

この対応が将来的に広範囲に適用された場合、価格調整範囲が薬価本体に割り込む可能性があり、その結果、薬価算定時に認められたイノベーション評価（加算）が否定されると捉えられる可能性があるうえに、費用対効果評価を受けていない比較薬に比べ低い薬価になる可能性があります。価格調整範囲が薬価本体に割り込むことなく、当初の薬価及び価格調整範囲に立ち戻って価格調整を行うべきであると考えます。そのため、医薬品の価値を否定してイノベーションを阻害することのない、公正な費用対効果評価を実施していくための方法について、さらなる議論が必要です。

患者の関与が限定的であること

医療技術等の価値を適切に評価するためには、医療技術等の状況を理解する重要なステークホルダーの関与が重要であり、これにより評価を誤るリスクを大幅に減らすことができます。特に患者は、革新的な治療の直接的な受益者であるため、新しい治療技術に意味を与えます。このような背景から、2024年度の費用対効果評価ガイドラインでは、QOL（Quality of Life）値を測定する場合は、医療関係者による代理回答でなく、患者本人が回答することを原則としています。しかし、その効果はまだ不明であり、患者の関与が不十分な場合には、費用対効

果評価制度の妥当性が損なわれる可能性が依然として残っています。患者が費用対効果評価制度に直接関与しなければ、アンメットニーズとの不一致のリスクが起る可能性があり、革新的医薬品市場の中核となる患者中心の医療から逸脱する恐れがあります。

3 費用対効果評価制度の最適化に向けて

現在の課題を明確に把握することで費用対効果評価制度を効果的に見直すことができ、産学官民が下記取り組みを実施することで、費用対効果とイノベーションを促進する制度を最適化できると考えます。

ルールとプロセスの透明性を高めること

日本製薬工業協会（JPMA）や米国研究製薬工業協会（PhRMA）などの業界団体は、私たち EFPIA と同様に中医協に定期的かつ積極的に協力して助言を行い、費用対効果評価に関して非常に適切で重要な意見を提供しています。これまでに、それらの国内およびグローバルの視点に基づく意見や洞察は、費用対効果評価制度の改善点を指摘する上で効果的であり、2024 年度のガイドライン更新の一部に見

られるように、産業界の継続的な関与は費用対効果評価制度を進化させるうえで非常に重要です [4, 6]。

また、政府関係者や保険者も、費用対効果評価における対象医薬品の選定範囲やルールを明確にすることで、評価基準の明確化を図り、費用対効果評価制度の改善を推進することができます。プロセスに一貫性を持たせ、対象品目の予測を向上させるためには、ルールに関して例外が予想されるシナリオを明確に定義しておく必要があります。

患者、産業界、アカデミアの声を費用対効果評価制度策定に活かすこと

直近の費用対効果評価ガイドラインの更新では、政府は産業界の意見を取り入れる意欲を示していますが、一方で残された課題もあります。今後の政策がイノベーションと患者の医薬品へのアクセスを妨げないようにするためには、すべてのステークホルダーが費用対効果評価制度策定に継続的に関与することが不可欠です。

創薬イノベーションエコシステムの中心にいる患者や患者団体が、費用対効果評価制度策定に関して複数のステークホルダーとの対談に参加することは非常に重要です。産学官民連携により、最も価値が高く関連性のある患者の声を選定し、アンメットニーズを最適な方法で解消す

ることができます。そして制度の理解をより深めることができる情報等を患者へ提供し続けることで、患者により興味を持ってもらえ、ひいては患者が本制度の策定に関与する意欲を高めることが可能です。

業界団体は、患者やその他のステークホルダーが意見交換を行うためのプラットフォームを提供し、成功例を参考にしながら費用対効果評価制度を改善することに貢献できます。また政府は、全てのステークホルダーに関与させる産学官民連携に積極的に取り組むことで、費用対効果評価制度が患者にとって価値が最大となるよう、説得力のある制度を作ることができます。そして、EFPIA を通じて EU と欧州の産業界が出資する世界最大規模の産学官民連携である IMI など、他の市場のベストプラクティスを参照することも可能です [9]。

4 結論

今後の意思決定推進と費用対効果評価制度の改善のために、迅速な保険償還等、日本の強みを活かしながら、長期的なイノベーションを妨げる可能性のある課題に取り組む必要があります。科学的妥当性を高め、運用上の課題を改善することは、費用対効果評価制度の最適化への貢献につながります。特に、プロセスに関

する透明性の向上、費用対効果評価の価格調整範囲に関するより慎重な検討、産学官民連携を通じた患者の関与は、関係する全てのステークホルダーにベネフィットをもたらす患者中心の創薬イノベーションエコシステムを推進するだけでなく、人口動態や社会の変化にも対応できる医療制度を維持し、患者に真の価値を持続的に提供し続けることを可能にします。

引用文献

1. The Global Use of Medicines 2023: Outlook to 2027. IQVIA Institute for Human Data Science, January 2023 ([link](#))
2. 費用対効果評価制度の見直しに関する検討（その1）. 中医協, Sep 2023 ([link](#))
3. キムリアの費用対効果評価結果に基づく価格調整について. 中医協, April 2021 ([link](#))
4. 中央社会保険医療協議会 意見陳述資料 費用対効果評価制度に関する意見. 中医協, November 2023 ([link](#))
5. 令和6年度費用対効果評価制度改革に係る医薬品、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の見直しについて（案）. 中医協, January 2024 ([link](#))
6. Shiroiwa, T. (2023) 'Selection of a comparator and population for cost-effectiveness evaluation', *J. Natl. Inst. Public Health*, 72 (2), pp. 152-160 ([link](#))
7. 医薬品の費用対効果評価に対する基本的見解～科学的妥当性を巡る課題～. EFPIA Japan, August 2021 ([link](#))
8. 費用対効果評価制度の見直しに関する検討（その3）. 中医協, December 2023 ([link](#))
9. Innovative Medicines Initiative ([link](#))

欧州製薬団体連合会（日本）

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 23 社が加盟しています。2022 年の加盟各社の総売上高は、日本の製薬市場の売上の約 31%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>

Contact EFPIA Japan at info@efpia.jp

作成協力者

EY ストラテジー・アンド・コンサルティング株式会社

Health Sciences & Wellness Consulting

EY は、人、テクノロジー、イノベーションの力でビジネスを変革し、より働きやすい世界を構築しています。次世代ヘルスケアエコシステムのグローバルスタンダードを造り出し、日本がそのリーダーであるよう推進することをパーパスに掲げています。



Contact EY [online](#)