

医療技術評価 (HTA : Health Technology Assessment) の政策動向と 製薬企業における薬剤経済学の活用

小久保欣哉



山田謙次



CONTENTS

- I 日本における医療技術評価 (HTA) に関する動き
- II 諸外国のHTA導入と活用の動向
- III HTAの中核をなす薬剤経済学
- IV 製薬企業における薬剤経済学活用のすすめ

要約

- 1 医療費の増大を背景に、医療技術評価 (HTA : Health Technology Assessment) を医療政策に活用しようという動きが日本でも強まってきている。日本版HTAの導入には、評価上の一般的なルールを定めたガイドラインが当局によって策定されることが必要となる。
- 2 HTA導入の国際的な動向としては欧州の取り組みが早く、近年はアジアでも、評価ガイドラインの制定が急速に進行している。導入国では、医療技術や医療機器よりも薬剤にHTAを用いる傾向がある。英国は2014年から、医薬品の価値に基づく薬価算定方法を導入する政策を打ち出し、HTAが避けて通れなくなるばかりか、政策立案上の中心的な手法に位置づけようとしている。
- 3 日本でもHTAの活用対象は、諸外国での活用頻度が高く、しかも医療費に占める割合も高い薬剤が中心になると考えられる。薬剤経済学の主な研究者 (情報の提供者) には大学等所属の学識者と製薬企業が挙げられる。研究結果の便益享受者 (情報の利用者) は、医療機関、患者・一般市民などである。
- 4 製薬企業では、取り扱い薬剤の経済学的な情報提供の観点も踏まえ、薬剤経済学研究の活用機会が見込まれる。活用方法には、対内的な戦略活用と対外的な戦略活用が考えられる。
- 5 日本でも、当局による医療政策としての検討が緒につき始めており、日本版HTAの具体化に向けて、学識者および製薬企業など産業界が実例を積み上げていく取り組みが期待される。

I 日本における医療技術評価 (HTA) に関する動き

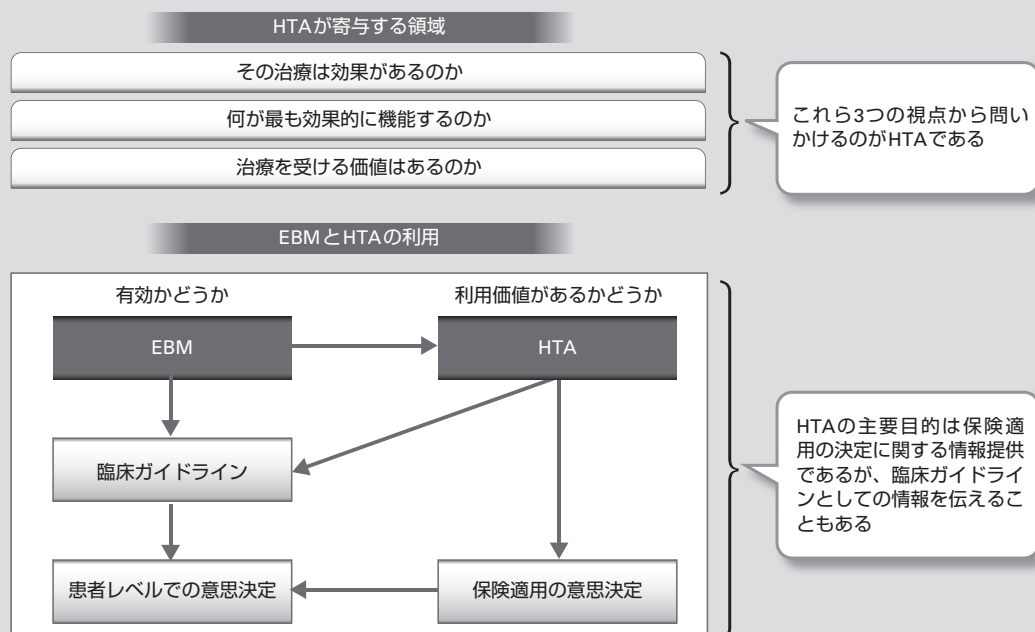
「医療技術評価 (HTA: Health Technology Assessment)」とは、個々の医療技術の臨床的効果、経済的評価、社会的影響などを多面的に研究する領域である。HTAには根拠に基づく医療 (EBM: Evidence-based Medicine) などのプロセスが包含される (図1)。欧米やアジアの多数の国では、政策立案や診療ガイドラインの臨床診断などにすでに用いられている。

日本は世界のなかでも比較的早く検討を始め、1992年、当時の厚生省は製薬企業の新薬申請時に医療経済的評価の要旨の添付を認めるようになった。しかし、新薬の価格算定時の医療経済評価の取り扱いルール・ガイドラインが明文化されていないなどの理由から、製薬企業によるデータの提出が促進されず、

現在では世界的に見て進んでいるとはいえない状況にある。

一方、近年は新たな動きが政府内に起っている。2010年秋以降、中央社会保険医療協議会 (中医協) で医療経済評価導入への言及があり、医学界および産業界からの注目が再び高まりつつある。厚生労働省は2011年5月12日、「社会保障改革に関する集中検討会議」に社会保障改革案を提示した。そのなかで医薬品産業の国際競争力強化の「医療イノベーションの評価」に関しては、医療経済的な観点を踏まえた検討をしていることが記述されている (次ページの表1)。このことから、HTAを医療政策に応用しようという動きが日本でも強まってきていることがうかがえる。このような動きのなか、HTAを導入するうえで必須ともいえる医療経済評価ガイドライン案が厚生労働省の研究班により作成されている^{注1}。

図1 医療技術評価 (HTA: Health Technology Assessment) の概念整理



注) EBM: Evidence-based Medicine、根拠に基づく医療
 出所) OECD (経済開発協力機構) 編著、小林大高・坂巻弘之訳『OECD医療政策白書——費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして』
 (明石書店、2011年) より作成

表1 日本における医療技術評価（HTA）に関連する取り組み

時期	対象	概要
1992年8月	医薬品	• 当時の厚生省が、希望薬価申請資料の様式内に「参考として提出してもよい資料」として「医療経済的評価の要旨」を正式に追加
2007年12月	医療機器	• 経済産業省が「医療機器に関する経済社会評価ガイドライン」を公表 • イノベーション創出などをめざし、医療機器に関する経済社会評価の促進や環境整備を推進
2010年11月 （医薬品を 念頭に）		• 中央社会保険医療協議会（中民協）において、保険収載に関する保険財政への影響の検討について森田朗委員が言及
2010年度	全般	• 厚生労働省における科学研究費補助金政策科学総合研究事業により、海外HTA動向の調査実施（福田班）
2011年 5月	全般	• 国会の社会保障改革に関する集中検討会議において、社会保障改革案で「医療イノベーションの評価に医療経済的観点を踏まえた検討」と記述
2012年 4月	全般	• 中民協において、2014年度診療報酬改定に向けた4つの新規検討項目のなかに「医療技術（薬剤、材料を含む）評価における費用対効果の導入」を含めることを決定 • 費用対効果評価専門部会（2012年5月23日、第1回開催）を設置し、次期薬価改定での試行導入に向けた検討などを実施

表2 OECD加盟国における医療技術評価（HTA）の現状

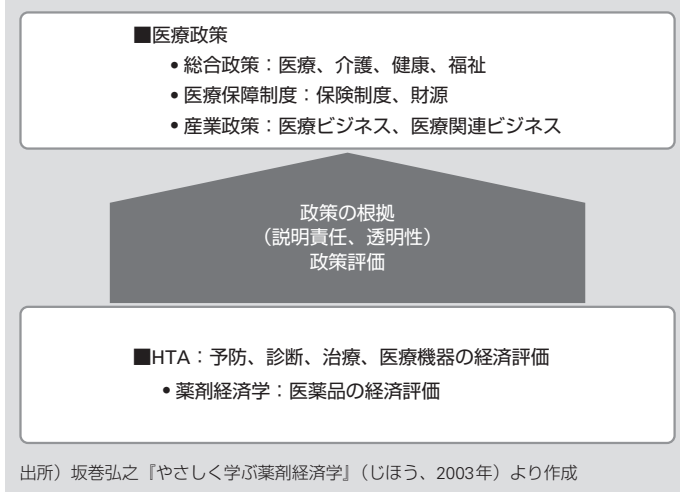
国名	医療技術評価の組織と能力がある	医療技術評価の費用対効果および利用しやすさが考慮されている	医薬品（新薬）		
			保険適用の有無	償還または価格	臨床ガイドライン
オーストラリア	Yes	Yes	○	○	○
オーストリア	Yes	Yes	○	○	
ベルギー	Yes	Yes	○	○	○
カナダ	Yes	Yes	○	○	○
チェコ	No	—			
デンマーク	Yes	Yes	○	○	○
フィンランド	Yes	Yes	○	○	○
フランス	Yes	No	○	○	
ドイツ	Yes	n.a.	○	○	
ギリシャ	No	—			
ハンガリー	Yes	Yes	○		
アイスランド	Yes	n.a.	○		
アイルランド	Yes	Yes	○		
イタリア	Yes	n.a.			
日本	Yes	Yes	○	○	
韓国	Yes	Yes	○	○	
ルクセンブルク	No	—			
メキシコ	Yes	Yes	○	○	○
オランダ	Yes	Yes	○	○	○
ニュージーランド	Yes	Yes	○	○	○
ノルウェー	Yes	Yes	○		○
ポーランド	Yes	Yes	○	○	
ポルトガル	Yes	Yes	○	○	○
スロバキア	Yes	n.a.			
スペイン	Yes	Yes		○	
スウェーデン	Yes	Yes	○	○	○
スイス	Yes	Yes	○		
トルコ	No	—			
英国	Yes	Yes	○		
			22	17	11

出所）OECD編著、小林大高・坂巻弘之訳『OECD医療政策白書——費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして』明石書店、2011年

こうした導入国では、治療技術や医療機器よりも、医薬品（新薬）にHTAを用いる傾向がある（表2）。医薬品への活用で特に目覚ましいのは英国である。同国では、新薬申請時の医療経済評価データの提出は必須とさ

このように英国が薬価の算定根拠にHTA

図2 医療技術評価（HTA）における薬剤経済学の位置づけ



を活用していることのほか、各国ではこのHTAを、新薬の保険適用の有無や推奨医薬品リストへの掲載の根拠としても活用し始めている。しかし、各国・地域の製薬企業団体は、安易なHTAの活用は、患者の医薬品の使用を阻害したり、企業の開発インセンティブをそいだりするなどとして、負の側面を強調したポジションペーパーを発表している。

諸外国のこのような動向を見ると日本でのHTA活用には曲折が予想される。一方でHTAは、医薬品の隠された価値が評価され、むしろ利用を促進する根拠ともなりうる。それだけにその本質を見極め、望ましい活用方法を模索することが必要である。

III HTAの中核をなす薬剤経済学

1 薬剤経済学の位置づけとフレーム

医療技術評価（HTA）は、個々の医療技術について臨床的効果、経済的評価、社会的影響などを多面的に研究する領域であり、このうち医薬品の経済的評価に焦点を当てた領域

を「薬剤経済学」という。本章は薬剤経済学の学問的・理論的内容について述べる（図2）。

日本薬学会によると、薬剤経済学とは、「医薬品の経済性・効率性を評価し、費用対効果を検証する学問。薬剤を消費して発生する費用と目標とする治療結果（アウトカム）を測定し、薬剤の臨床的効果と経済的効率の両面を評価する」と定義されている^{注3}。

上述の考えに基づき薬剤経済学のフレームを整理すると、①分析手法、②モデリング、③データソース、④分析における留意点——で構成される（図3）。

(1) 分析手法

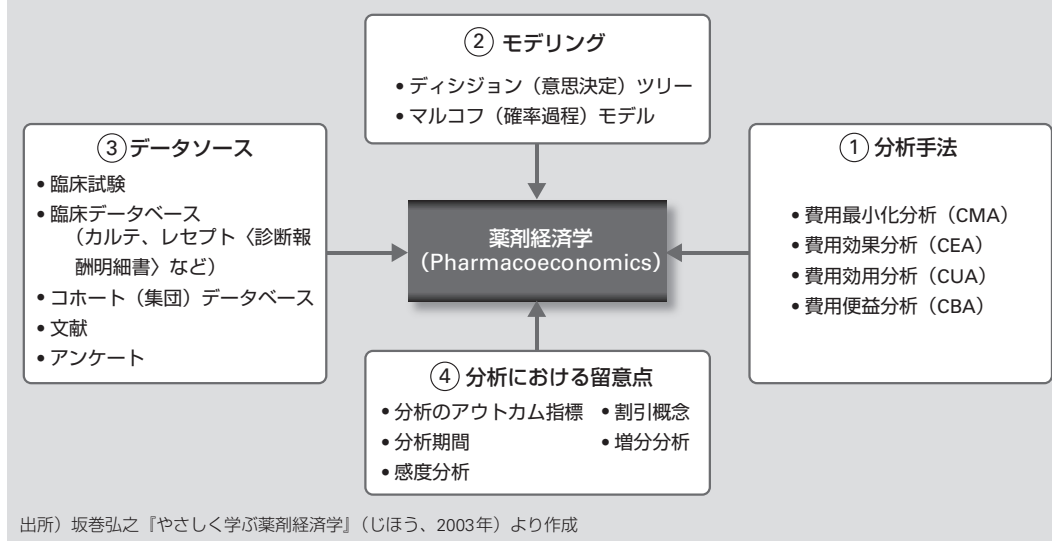
①の分析手法としては、①費用最小化分析、②費用効果分析、③費用効用分析、④費用便益分析——などが挙げられる。

①費用最小化分析（CMA：Cost-minimization analysis）は、比較する複数の治療プログラムによる結果が同等の場合に、たとえば、注射薬と内服薬との比較（剤型間比較）などに用いられる。この場合は効果が等しいため、費用が少ないほうが効率的と判断できる。

②費用効果分析（CEA：Cost-effectiveness analysis）は、最も一般的な方法として用いられる。検討対象としては、一つの指標を定めればよく、たとえば生存年など、対象となる疾患や治療法などに応じて選定する。

③費用効用分析（CUA：Cost-utility analysis）は、検討対象として効用値と呼ばれる値を用いるものである。代表的な効用値は、質調整生存年（QALY：Quality-adjusted life year）である。QALYは、各病態におけるQOL（Quality of Life：生活の質）を効用値

図3 薬剤経済学のフレーム



として、「QOL評価値1」が完全な健康評価値、「QOL評価値0」が死亡と定義する。QOL評価値を0から1の間でスコア化し、これと生存年数とを掛け合わせて評価する。

④費用便益分析（CBA：Cost-benefit analysis）は、検討対象として活動にかかる費用と得られる便益をすべて金銭で評価して効率性を検討する方法である。ダムや道路などの公共投資でも用いられることが多い。

(2) モデリング

②のモデリングにはさまざまなものがあるが、代表的なモデリングは、「ディシジョン（意思決定）ツリー」と「マルコフ（確率過程）モデル」である。

このうち急性疾患の分析にはディシジョンツリーが用いられることが多い。ディシジョンツリーは、図4のように、治療や疾患の流れを左側から右側に向かって組み立てていく。

①治療を開始して3日目に初期治療効果を

判定する

②有効な場合は治療継続、効果不十分な場合は別の薬剤に切り替える

③効果不十分な確率はXパーセント

——のように、起こりうるシナリオとその確率に応じてツリーを構築する。ある治療を行った場合に、ディシジョンツリーによって期待される費用や生存年数が確率的に推計できる。

一方、慢性疾患の分析にはマルコフモデル

図4 ディシジョンツリーの構造

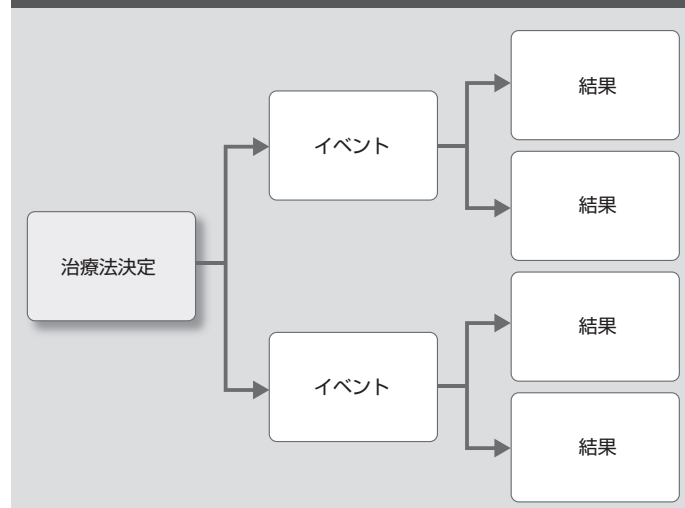
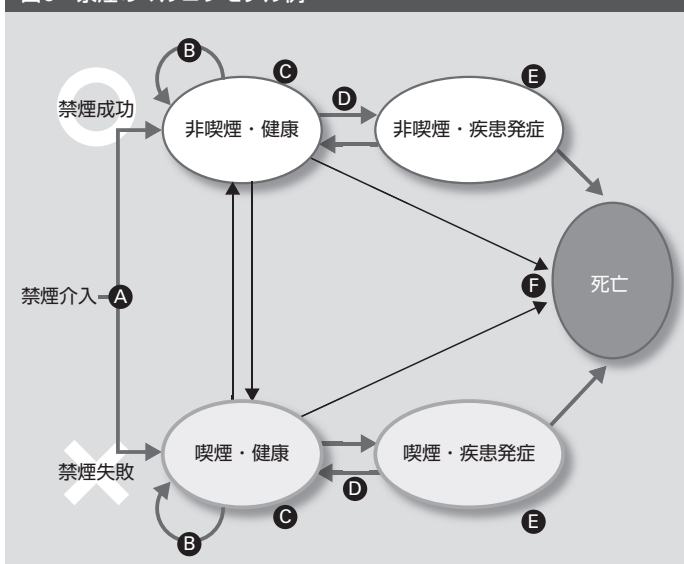


図5 禁煙のマルコフモデル例



が使われるケースが多い。マルコフモデルは、慢性疾患の予後をいくつかのステージに分類し、患者が一定の期間にそのステージ間をどのように進んでいくのかをシミュレーションするモデルである（図5）。

（3）データソース

③のデータソースについては、臨床試験での収集データ、臨床データベース（カルテ、レセプト〈診療報酬明細書〉等）、コホート（集団）データベース、アンケートなどが挙げられる。近年、データソースとして新たに注目を集めているのが臨床データベースである。欧米には利用可能な臨床データベースが数多く存在し、これまでに多数の研究報告がなされている。日本でもレセプトデータの電子化が進んできており、特定健康診断・特定保健指導データについても、制度開始当初の2008年度から電子的なデータ蓄積が行われている。このようなデータベースは臨床疫学、薬剤疫学、薬剤経済学等の研究でも有用であ

り、製薬企業でも活用が進められている。

（4）分析における留意点

④の分析における留意点としては、分析のアウトカム指標、分析期間、感度分析、割引概念、増分分析などが挙げられる。分析のアウトカム指標には、罹患率、死亡率、平均生存年、QOL、治癒率、前述のQALYが用いられる。薬剤経済学では不確実性による影響を確認するために、モデルを使った感度分析を行うのが一般的である。感度分析とは、使用したパラメータを一定の範囲で変化させた場合に、結果がどのように変化するかを検証する手法である。

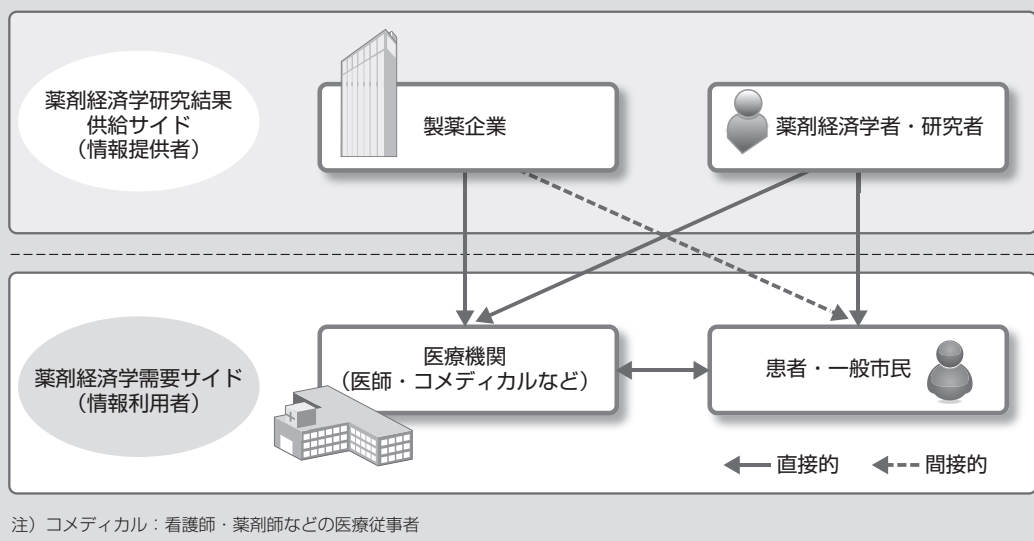
2 薬剤経済学研究の主な活用者 ——提供者と利用者の視点

薬剤経済学の主な活用者は、情報の送り手（薬剤経済学研究論文等の提供）と情報の受け手（同研究論文等記載の情報を参照・利用）に分類できる（図6）。

情報提供者（送り手）としては、大学等の研究機関の学識者が挙げられる。こうした学識者は、薬剤経済学の研究成果を広く提供することに加えて、理論的な発展に寄与する役割も担っている。近年、欧米において薬剤経済学は大きく進歩しており、その発展には、医療情報学、統計学、免疫学などの関連する学問の進歩も寄与している。さらに、研究基盤となる臨床データベースの整備も見逃せない。

また、情報の送り手として大きな役割を担う存在として製薬企業がある。グローバル製薬企業は、薬剤経済研究を積極的に実施している。そうした製薬企業は世界各国に担当部

図6 薬剤経済学の主な活用者（提供者・利用者）のイメージ



署を置き、各国の環境に合わせた研究活動を展開している。その結果を、開発の意思決定や計画の立案、価格戦略およびマーケティングプランニング、セールスプロモーションと多岐に活用している。

一方、情報利用者（受け手）は、医療機関、患者・一般市民である。たとえば医療機関の経営効率化のため、薬剤経済学的な評価のもとに薬剤の採用を決定することが考えられる。医療機関の経営的側面から見ると、医薬品管理の手間、あるいは医薬品によって、疾病管理の手間が軽減されれば、その時間を他業務に振り向けることができ、経営改善や診療の質的向上につながると考えられる。また、廃棄物、検査等の費用低減やベッド回転率の向上なども、経営上の重要な課題である。

さらに、患者の立場からは、医学的な有効性だけではなく、通院や入院の頻度、疾病による介護の負担などを考慮した薬剤選択に適用できる。これまで、診療方針の決定に際し

ては、患者の経済的負担などに対する関心は必ずしも高いとはいえなかった。しかし今後、医療技術を選択するときには、経済面やQOLなど医薬品がもたらすメリットを広く考慮した決定が進む可能性があり、薬剤経済学の考え方が重要性を増すと考えられる。

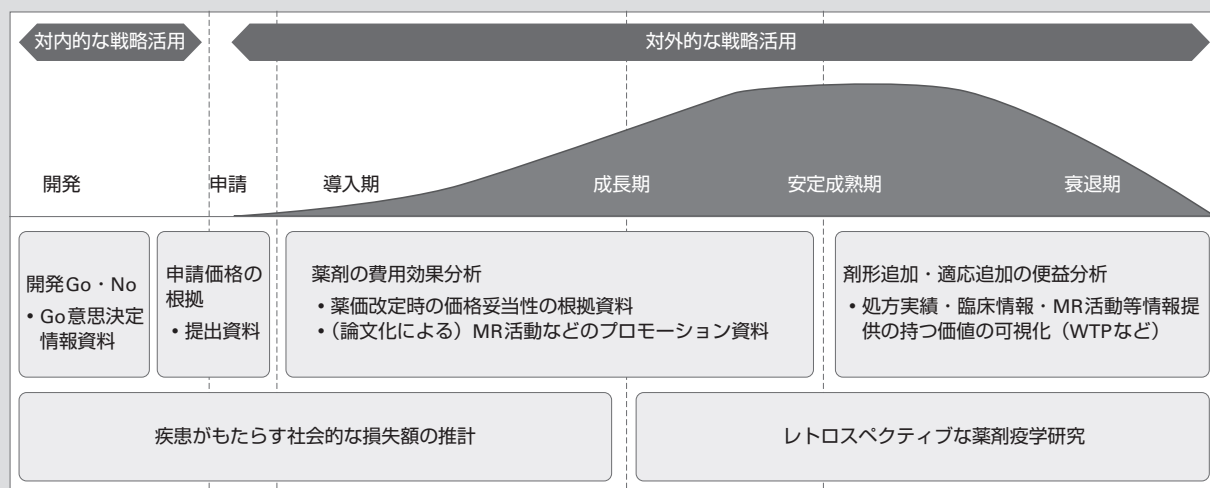
IV 製薬企業における薬剤経済学活用のすすめ

薬剤経済学の活用が進むという大きな流れのなかで、特に重要性が高まるのは、当該薬剤を扱っている製薬企業である。製薬企業での薬剤経済学の活用目的には、

- ① 社内の意思決定や計画立案のための対内的な戦略活用
- ② 社外の関係者とのコミュニケーションに用いられる対外的な戦略活用

——が考えられる。上述の2つの戦略活用については、製品のライフサイクルの観点から分類できる（次ページの図7）。

図7 製薬企業での薬剤経済学の活用イメージ



注）MR：Medical Representative（医療情報担当者）、WTP：自発的支払い意思額、レトロスペクティブ：回顧的

1 対内的な戦略活用 ——研究開発意思決定での活用

医薬品開発の特徴は、長期にわたる開発期間と多大なコスト、上市の不確実性にある。さらに、多大な時間と費用をかけて上市した新薬も、医療ニーズに合ったものでなければ十分な利益が得られない。そこで開発段階において、薬剤経済学により、価格の予想や既存競合製品と比した価値などを評価することが重要になる。対象となる疾患領域において、治療のアウトカムと費用を当該疾患の専門医へのインタビュー・アンケート等や文献をもとに推計し、開発（検討）中の新製品にどの程度の効果が見られれば費用削減に寄与し、医療ニーズを満足させうるかなどを予測することができる。

従来は新薬開発において、既存競合製品と比べて「有効性や安全性が少しでも上回ればよい」という目標設定であったのに対し、薬剤経済学は、「そもそもこの薬を世の中に新たに出す経済的価値はあるのか」という観点

での目標設定を意味し、意思決定をより客観的・合理的にできるという利点がある。このように、今後は開発段階においても薬剤経済学の活用機会が広がっていくものと考えられる。

ここでは、疾患がもたらす社会的な損失額を薬剤経済学的手法により推計する方法を例示する（表3）。

製薬企業は、疾患がもたらす社会的な損失額を推計することで、開発段階にある製品群のうち、どの疾患領域の開発品が同損失額の軽減に最も寄与できるかなどの観点から、開発品の投資を優先的にすべきかどうかの参考情報にすることができる。

社会的な損失額には、現在は通院していないものの本来は通院する必要がある潜在的な患者層の損失額も含まれる。こうした患者層の存在が顕在化して通院を促し治療効果が得られれば、労働損失の軽減など社会的な便益をもたらす。

また製薬企業にとっては、これまで疾患を

表3 疾患がもたらす社会的な損失額の推計に関する考え方

費用項目		算出式・活用データ
直接費	①通院費用	$\text{「人口」} \times \text{「通院割合」} \times \text{「1人当たり医療費・交通費」}$ - 通院割合：アンケートデータ、文献データなど 1人当たり医療費・交通費：アンケートデータ、文献データ、レセプトデータなど
	②OTC（一般医薬品）費用	$\text{「人口」} \times \text{「服用割合」} \times \text{「服用日数」} \times \text{「OTC単価」}$ - 服用割合・服用日数：アンケートデータなど - OTC単価：市場データ・製品単価の公表データなど
間接費	③労働損失	$\text{「人口」} \times \text{「労働への影響の割合」} \times \text{「損失日数」} \times \text{「1日分の労働単価」}$ - 労働への影響の割合・損失日数：アンケートデータなど 1日分の労働単価：政府統計などの公表データなど
＝社会的な損失額推計の合計		

認知せず通院をしていなかった層にも通院を促すことで、自社製品の処方機会を広げることができる。

2 対外的な戦略活用 ——薬価の算定根拠と臨床現場でのプロモーション

前述したとおり、諸外国では医薬品（新薬）のHTAが重要視されており、保険適用の有無、薬価の算定根拠、推奨医薬品リストなどの政策決定に用いられている。日本はこれまでのところ、医薬品政策のなかに医療技術評価をどのように用いるかについて明確なルールを示していないが、すでに議論は積極的に行われており、その一つとして新薬の薬価算定の根拠資料への利用が予想されている。また上市以降も、薬価改定のタイミングで当局への根拠資料として提出が求められることも考えられる。

その他の対外的な戦略活用としては、薬剤経済学の研究論文を用いた臨床現場でのプロモーションがある。製薬企業ではこれまで、

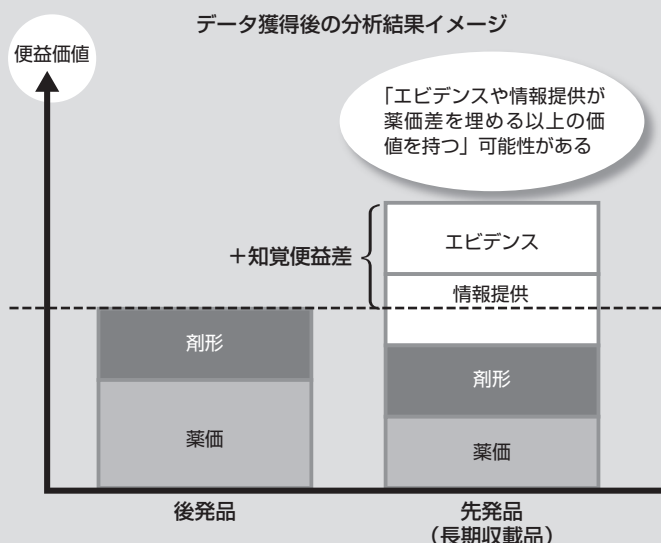
MR（Medical Representative：医療情報担当者）を介した活動などで、薬剤の有効性や安全性に関する研究成果や論文を薬剤処方推奨の根拠とするのが一般的であった。しかし、今後はそれらに加え、医療技術評価に基づいて、薬剤処方を推奨する流れが進むことが予測される。製薬企業が薬剤経済に関する情報を提供することは、医療機関との価格交渉等の局面において、製薬企業が薬価に対して自ら説明責任を果たすうえでも重要になると考えられる。

ここでは一例として、新薬が医療現場や患者（および家族）にもたらす便益を薬剤経済学的手法により可視化するイメージを示した（次ページの図8）。

後発品が上市している長期収載品であっても、先発薬として長年蓄積してきた処方実績や治療効果に裏打ちされた「見えない価値」があると考えられる。これらがもたらす便益を可視化することで、後発品との薬価差以上の価値を明らかにできる。

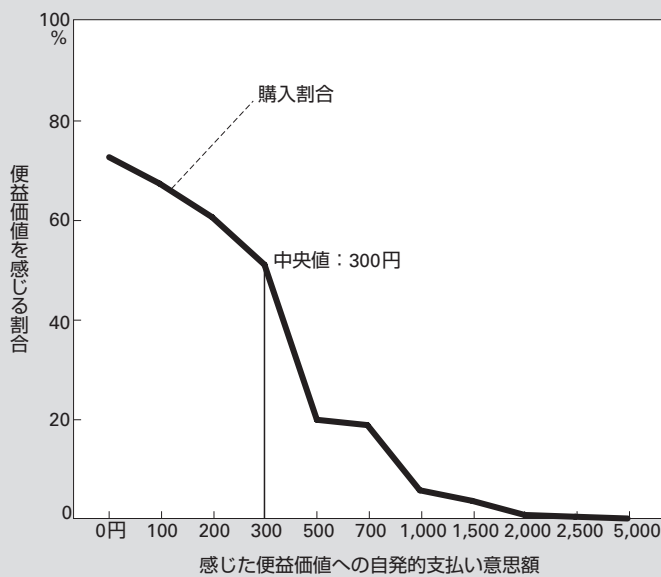
具体的には、自発的支払い意思額（WTP：

図8 エビデンスや情報提供の便益可視化（イメージ）



注）エビデンス：臨床試験結果に基づく学術論文など

図9 エビデンスや情報提供による自発的支払い意思額需要曲線（イメージ）



Willingness to pay) などを用いた薬剤経済学的方法で便益を分析できる。図9は、縦軸に「便益価値を感じる割合」、横軸に「感じた便益価値への自発的支払い意思額」を示した需要曲線である。

この需要曲線では、回答者の50%が便益価

値を感じた自発的支払い意思額は300円であることを示している（図9の中央値）。このような手法を用いれば、長期収載品であっても、先発薬として長年蓄積してきた処方実績や治療効果に対して、情報を受ける側の医療従事者や患者または家族が感じる便益価値を可視化することができる。

以上、日本および海外でのHTAの動向とHTAの具体的な使い方として、製薬企業における薬剤経済学の活用を概観した。

日本でのHTAの取り組みは、医療政策としての検討が緒についたばかりである。このような取り組みは政策当局だけではなく、学識者、および製薬企業など産業界のかかわりも重要である。今後日本でもHTAの研究や活用実例が積み重ねられ、①医療・健康への貢献、②産業界での活用、③研究領域としての理論的進歩——という3つの観点で発展していくことを期待する。

注

- 1 鎌江伊三夫、池田俊也「医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドラインのエキスパート・コンセンサス案とその活用への提言」『薬剤疫学』16（1）、日本薬剤疫学会、2011年
- 2 富田奈穂子、井上幸恵、池田俊也「医療技術評価（HTA）の政策立案への活用可能性（前編）」『医療と社会』Vol.21 No2、「医療技術評価（HTA）の政策立案への活用可能性」研究会、2011年
葛西美恵、小林慎、池田俊也「医療技術評価（HTA）の政策立案への活用可能性（後編）：海外の動向とわが国における課題」『医療と社会』Vol.21 No3、「医療技術評価（HTA）の政策立案への活用可能性」研究会、2011年
- 3 日本薬学会Webサイト（<http://www.pharm.or.jp/>）

参考文献

- 1 OECD編著、小林大高・坂巻弘之訳『OECD医療政策白書——費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして〔第2回OECD保健大臣会合背景文〕』明石書店、2011年
- 2 鎌江伊三夫「医薬経済学的手法による医療技術評価を考える〈1〉イノベーション評価をめぐる最近の動き」『医薬品医療機器レギュトリーサイエンスPMDRS』Vol.43 No.1、医薬品医療機器総合機構、2012年
- 3 鎌江伊三夫「医薬経済学的手法による医療技術評価を考える〈2〉EBM, VBM, HTA：概念を整理する」『医薬品医療機器レギュトリーサイエンスPMDRS』Vol.43 No.4、医薬品医療機器総合機構、2012年
- 4 池上直樹、西村周三編著『医療技術・医薬品講座医療経済・政策学 第4巻』勁草書房、2005年
- 5 坂巻弘之『やさしく学ぶ薬剤経済学』じほう、2003年

著者

小久保欣哉（こくぼきんや）

消費サービス・ヘルスケアコンサルティング部主任
コンサルタント

専門はヘルスケア領域の事業戦略立案・実行支援、
セールス&マーケティング、医療経済分析

山田謙次（やまだけんじ）

消費サービス・ヘルスケアコンサルティング部グ
ループマネジャー

専門は社会保障制度研究、ヘルスケア産業に向けた
戦略コンサルティング