

議論の中間的な整理（費用対効果評価専門部会）（案）

平成 25 年 11 月 6 日

医療分野のイノベーションの進展によって、より高い治療効果等が期待される医療技術が選択できるようになる一方で、高い治療効果等が期待される医療技術の中には費用が大きなものがあるため、これらの増加による医療保険財政への影響についての懸念や費用の大きな医療技術の中には、必ずしも治療効果等が十分に高いとは言えないものがあるという指摘がある。

医療技術の費用対効果評価については、「平成 24 年度診療報酬改定に係る答申書附帯意見」において、『革新的な新規医療材料やその材料を用いる新規技術、革新的な医薬品の保険適用の評価に際し、費用対効果の観点から可能な範囲で導入することについて検討を行うこと』とされたことを踏まえ、中央社会保険医療協議会費用対効果評価専門部会を平成 24 年 4 月に設置し、以後計 13 回の議論を行った。

検討の内容としては、「制度の基本的考え方」について議論を行った後に、「具体的な評価の運用手法」を「評価手法」と「具体的な評価の活用手法」に分けた上で、取り扱った。

これまでの本部会での議論を踏まえ、認識の共有のため、議論の中間的な整理を行うこととする。

1. 医療技術の費用対効果評価の必要性について

(1) 現行制度における費用対効果評価の取り扱いについて、下記のような指摘がなされた。

- ① 現行の医療技術の評価においては、安全性・有効性を中心として総合的な評価を行っており、費用対効果については、保険適用を希望する際に費用対効果に関する資料の提出等を求める等の対応を行っているが、医薬品、医療材料、医療者等の技術の3分野で取り扱いが異なっている。
- ② 費用対効果の評価結果を明示的な加算の要件とする等の具体的な判断基準が設定されておらず、費用対効果の評価が医療保険上の評価に必ずしも反映されていない。
- ③ さらに、費用対効果評価に関する資料の提出等を行った場合であっても、提出資料の検証を行う等の対応は行われていない。

(2) これらの考え方を踏まえ、医療保険上の評価を行うにあたり、著しく従来技術よりも高額な費用を要する技術等一定の要件を満たす医療技術を対象として、効果（安全性・有効性等）のみならず、費用も考慮した評価を行うため、医療技術の費用対効果評価について導入を検討する必要性が確認された。

2. 制度の基本的な考え方

(1) 対象技術について

対象技術については、下記の原則に基づくことが確認された。

- ① 希少な疾患を対象としないこと。
- ② 対象となる疾病について代替性のある他の医療技術が存在すること。
- ③ 代替する医療技術と比較して、有用性の観点から、財政影響が大きい可能性があること。
- ④ 安全性・有効性等が一定程度確立していること。

ただし、上記以外のものについても、今後の検討により必要がある場合は、対象とすることもあるのではないかという指摘もあった。

(2) 結果活用について

結果活用については、下記の原則に基づくことが確認された。

- ① 医療技術の評価については、安全性・有効性の評価をはじめ、様々な観点からの評価を総合的に勘案するという考え方を基本的に維持しつつ、費用対効果評価の結果を活用し、より妥当な医療技術の評価を目指すものとする。
- ② 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。また、費用対効果評価の結果の判定の目安等についても、一定の柔軟性を持ったものとし、硬直的な運用を避けるものとする。
- ③ 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。

(3) 用語の定義について

以下の3つを総称して、医療技術と呼ぶこととする。

- 医薬品
- 医療材料
- 医療者等の技術（手術など）

3. 分析 (assessment) と評価 (appraisal) の区分について

諸外国における取り組みを踏まえると、費用対効果評価を用いた意思決定プロセスは下記の3要素に整理できる。

(1) 分析 (assessment)

実際の費用対効果の分析を行い、増分費用効果比等を算出する。

(2) 評価 (appraisal)

より幅広い社会的側面も考慮しながら、得られた費用対効果分析の結果を解釈する。

(3) 意思決定 (decision)

上記の結果から実際の意思決定を行う。

諸外国においては、分析 (assessment) の結果をもって一律に意思決定 (decision) を行っているわけではなく、評価 (appraisal) によって、より幅広い社会的側面も勘案していることから、我が国においても、客観的な分析 (assessment) のみをもって、一律に意思決定 (decision) を行うことなく、分析 (assessment) の結果を様々な要素を加味した上で評価 (appraisal) し、意思決定 (decision) を行う方向で検討を進めることが確認された。

4. 具体的な評価の運用手法について

(1) 評価手法

費用対効果評価の具体的な手法については、下記の項目等について議論が行われた。

なお、諸外国においては、費用対効果評価における分析 (assessment) の方法等について、ガイドラインを定め、標準化を図っていることが多いことから、我が国でも、分析 (assessment) の透明性、再現性、科学的妥当性等を向上させるため、ガイドライン等によって標準的な手法を定めるべきという指摘があった。

① 効果指標の取り扱い

費用対効果評価の効果指標については、QOL を反映した生存期間である質調整生存年 (QALY)、生存年 (LY)、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率 (例えば脳卒中の発生率など) 等が検討の対象となった。

効果指標について検討するにあたっては、下記のような点が指摘された。

- (ア) 医療技術の多様性 (対象疾患や治療方法等の多様性) に対応可能なよう、一定の普遍性を有するとともに、比較可能性等に留意した効果指標を用いることが求められる。
- (イ) 医療におけるゴールとしては、寿命の保持・延長 (特に、若年期の死を予防することによる。)、QOL の維持・向上 (特に苦痛の除去による) が重要である。

それぞれの効果指標の特徴については、下記のように整理された。

(ア) QALY(質調整生存年)について

- i 生存年と生活の質(QOL)の双方を考慮し、包括的な評価が可能である。
- ii 疾患に依存せず、異なる疾患でも比較が可能である。
- iii 諸外国で幅広く利用されており、既に一定の運用実績がある。更に、
海外データの活用も考慮可能である。
- iv データの収集や分析に多くの労力を要することがある。
- v 長期的な予後の推計が必要になることがある。

(イ) LY(生存年)について

- i 致命的な疾患においては、確立された指標と言え、諸外国でも幅広く利用されている。
- ii 致命的な疾患同士での比較においては、疾患に依存しない。(異なる疾患間での比較が可能)
- iii 客観的な指標であるが、QOLは考慮されず、包括的な評価とならない可能性がある。
- iv 長期的な予後の推計が必要になることがある。

(ウ) 臨床検査値、治癒率、重症度、発生率等について

- i 疾患等に応じた指標が利用可能である。
- ii データの入手が容易である。(臨床試験等での指標も活用可能)
- iii 異なる指標間での比較が困難である。
- iv 当該医療技術がもたらす効果を包括しているとは限らない。
- v 判断基準を個々の指標に応じて設ける必要がある。

また、効果指標の取り扱いについては、

- I. 疾患や医療技術横断的に使用できることや、患者自身によるQOL評価の重要性を鑑みてQALYの使用を検討してもよいのではないか。
- II. 諸外国においては原則としてQALYを使用するか、あるいは1つのオプションとして利用していることが多い。

という意見がある一方で、

III. 諸外国の先行例において、QALY の評価を一律に適応し、保険適用の可否に活用することについては、弊害がある可能性が報告されている。

IV. QOL 以外の指標で、患者の機能をより反映する指標がないか検討してはどうか。

V. 疾患の好発年齢による影響があるのではないか。

といった意見もあった。

【方向性】

以上を受けて、効果指標に関する取り扱いについては、QALY を用いた増分費用効果比 (ICER: incremental cost-effectiveness ratio) を単一の指標とした機械的な運用により保険収載の可否を判断することは行わないことを前提とし、我が国の医療制度や医療現場の実情を踏まえつつ、質調整生存年 (QALY)、生存年 (LY)、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率等を効果指標とする際の運用方法やそれらの組み合わせのあり方等を今後検討する。

また、費用対効果評価においては、効果指標の取り扱いと合わせて、評価 (appraisal) において医療技術をどのように評価するのが重要である。効果指標で捉えきれない医療技術の側面は、評価 (appraisal) において勘案することも考慮することを検討する。

② 費用の範囲や取り扱い

費用には下記のような種類のものがあることが確認された。

(ア) 公的医療費

公的医療保険制度における医療費 (自己負担分含む)

(イ) 公的介護費

公的介護保険制度における介護費 (自己負担分含む)

(ウ) 生産性損失

仕事や家事ができないことによる生産性の損失

(エ) 家族等による介護等の費用

家族等が介護やケアを行うことによる費用

(オ) その他

費用の範囲や取り扱いについては、

- I. 医療技術が公的医療保険に与える影響について検討を行う観点から、公的医療費のみの検討で十分ではないか。
- II. 生産性損失は推計方法等によるばらつきが大きいので、費用として含めることには慎重であるべきではないか。

等の意見がある一方で、

- III. 生産性損失が減少することが、社会的な観点等から重要な場合がありえるので、何らかの形で勘案することがあってもいいのではないか。

という意見もあった。

【方向性】

以上を受けて、費用の範囲や取り扱いについては、公的医療費のみを費用の範囲に含めることを原則としながら、公的介護費、生産性損失を費用に含めた分析を同時に提出することを可能とするなど、公的医療費とそれ以外の費用の取り扱いを明確に区別しつつ、今後の検討を行う。

③ 比較対照のあり方

比較対照のあり方については、下記のような確認・指摘がなされた。

- I. 比較対照とする医療技術は、既に医療保険制度で利用されているものであることが必要である。(比較対照が「無治療」である場合を除く。)
- II. 診療現場での使用実態を踏まえて検討する必要がある。
- III. 諸外国では、診療現場で幅広く使われており、当該医療技術の導入によって置き換えられる医療技術としていることが多い。

【方向性】

以上を受けて、我が国において費用対効果評価を行う際の比較対照技術は、幅広く臨床現場等で使用されており、当該技術が導入されたときに、最も置き換わりうる想定されるものを原則として今後の検討を行う。

④ データの取り扱い

効果データや費用データの取り扱いについては、下記のような確認・指摘がなされた。

- I. 有効性・安全性等の効果データについては、システマティックレビューに基づき臨床研究の情報を収集し、エビデンスレベルが高くかつ現実の臨床成績を反映しているものを優先的に利用することが重要である。
- II. 一方、エビデンスレベルのみにとらわれることなく、対象集団や診療実態の違い（例えば海外データの場合、医療技術の使用実態のわが国との違い等）等に留意することも重要である。
- III. 費用の算定は、「単価」に「回数」をかけることにより得られる。
- IV. 「単価」としては、公定価格等実際に現場で使用されている価格を用いるのが一般的である。
- V. 「回数」については、「ガイドライン等に示された標準的な診療過程」や「実際の診療を分析したデータ」等に基づき計算することが多いが、いずれにせよ日本国内の診療実態を適切に反映していることが重要である。

【方向性】

効果データについては、幅広に関連する効果データの検索を行う等、網羅性を担保することとする。また、対象集団や診療実態の違い（例えば海外データの場合、医療技術の使用実態のわが国との違い等）等に留意しつつ、原則としてエビデンスレベルが高いデータを優先することとして、今後の検討を行う。

費用データについては、原則として、「単価」は、診療報酬点数表、薬価基準、特定保険医療材料価格基準等を用いることとし、「回数」は、わが国の診療実態を適切に反映していると考えられるデータ（例：「ガイドライン等に示された標準的な診療過程」、「実際の診療を分析したデータ」）を用いることとして今後の検討を行う。

(2) 具体的な評価の活用手法

① -1 費用対効果評価の活用方法について

諸外国における費用対効果評価の取り組みを踏まえ、結果活用方法としては、下記に大別できるとの確認がなされた。

- (ア) 保険償還の可否の判断を行う。
- (イ) 保険償還価格への反映を行う。

また、諸外国において保険償還の可否の判断に使用する際には、患者アクセスを確保するための措置として、「予め定めた使用回数や使用期間までは償還し、上回った部分は、公的医療保険以外(事実上の値引き等)による提供とする」等の対応が行われることがあることが確認された。

また、結果活用方法については、

- I. 我が国の公的医療保険制度のあり方を踏まえると、費用対効果評価の活用方法としては、償還価格への反映の方が適しているのではないか。

という意見があった一方で、

- II. アクセスを確保すること等については慎重に配慮しつつ、対象技術等の状況によっては、保険償還の可否に活用することもあり得るのではないか。

との意見も出された。また、今後は、我が国における具体例を元に結果活用の方法についての検討を行ってもよいのではないかという意見もあった。

①-2 結果活用の時期について

結果活用の時期については、下記の場合に分けて検討がなされた。

- (ア) 保険収載の前後
- (イ) 保険収載後、1～2年を経過した後
- (ウ) 保険収載後、数年経過後

保険収載の前後に結果活用を行う際は、早期に費用対効果評価の結果が反映される一方で、評価に時間を要する場合、保険収載の遅延につながる可能性があることが指摘された。

保険収載後、時間を経てから結果活用を行う際は、蓄積した臨床データや研究結果の活用が可能であることや、評価の時間を確保できるため、保険収載の遅延の懸念はなくなることが指摘された。一方で、費用対効果評価の結果を活用せずに一定期間は償還が行われることをどう考えるかが課題である。

② 結果活用の技術的なあり方の検討について

増分費用効果比(ICER: incremental cost-effectiveness ratio)を用いた分析を行うことについては一定の合意があったが、質調整生存年(QALY)、生存年(LY)等を用いた場合の増分費用効果比の解釈のあり方や目安等について、および、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率等を用いた場合の増分費用効果比の解釈の技術的なあり方について、更なる検討が必要であるという意見があった。また、検討に当たっては、質調整生存年(QALY)、生存年(LY)、臨床検査値、治癒率、重症度、発生率等のいずれにも応用可能である点から、ドイツにおいて検討されている効率性フロンティア法も参考になるのではないかという意見があった。

【方向性】

現在の我が国の保険医療制度との整合性や患者アクセスの確保等に留意しつつ、保険償還の可否の判断や保険償還価格の決定に医療技術の費用対効果評価の結果を活用することについて、我が国に当てはめた具体例を用いることも考慮しながら、既存制度との整合性も含めて引き続き検討する。なお、結果活用の技術的なあり方や結果活用の時期についても合わせて検討を行う。

5. 終わりにまとめ

医療分野のイノベーションの進展によって、より高い治療効果等が期待される医療技術が選択できるようになる一方で、高い治療効果等が期待される医療技術の中には費用が大きなものがあるため、これらの増加による医療保険財政への影響についての懸念がある。さらに、費用の大きな医療技術の中には、必ずしも治療効果等が十分に高いとは言えないものがあるという指摘がある。また、費用対効果の評価が医療保険上の評価に必ずしも反映されていないという指摘がある。

これらの課題に対応するため、当部会における上記の整理を踏まえつつ、先行する諸外国における費用対効果評価制度の動向や我が国の保険医療制度との整合性等も十分に勘案しながら、具体例を取り上げた検討等を含め、引き続き、医療技術の保険適用の評価に際し、費用対効果の観点を導入することについて検討を行っていくこととする。