

医療経済的側面も含めた 技術の評価

2013年4月23日

@今後のがん研究のあり方に関する有識者会議

白岩 健

(国立保健医療科学院 研究情報支援研究センター)

The forth hurdle

今までの医療技術は、

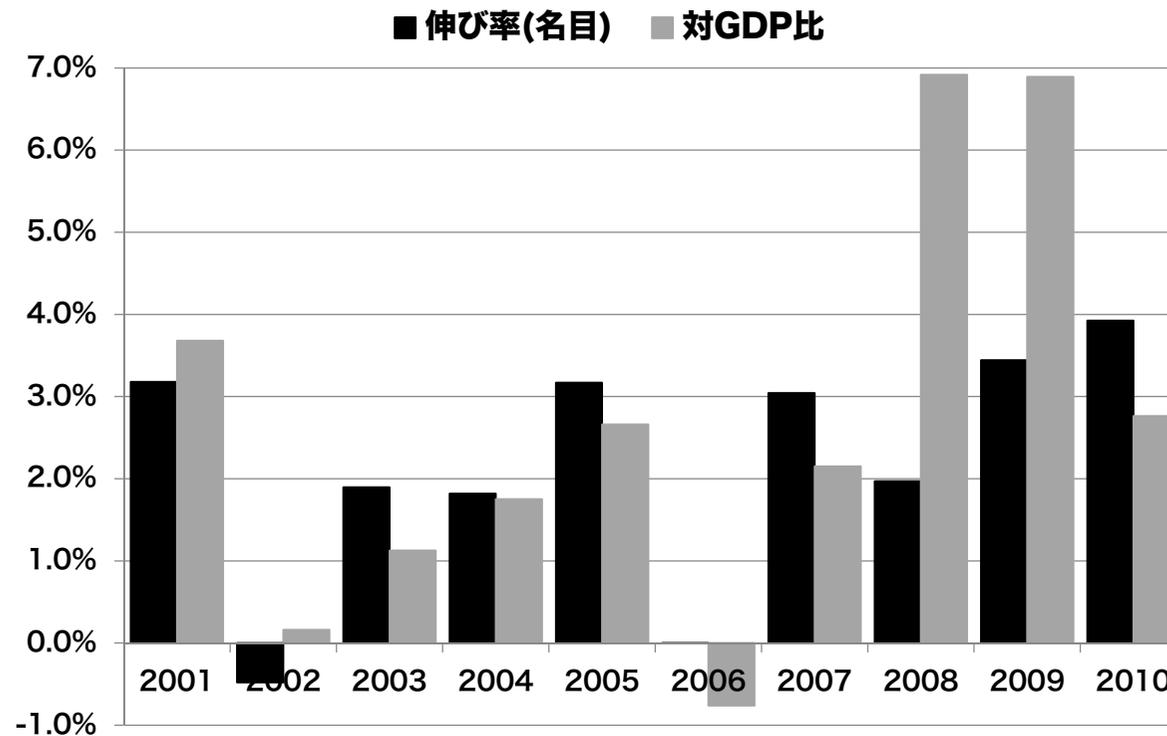
- (a) 品質 (Quality)
- (b) 安全性 (Safety)
- (c) 有効性 (Efficacy)

上記に加えて、

- (d) 経済性 (Efficiency)

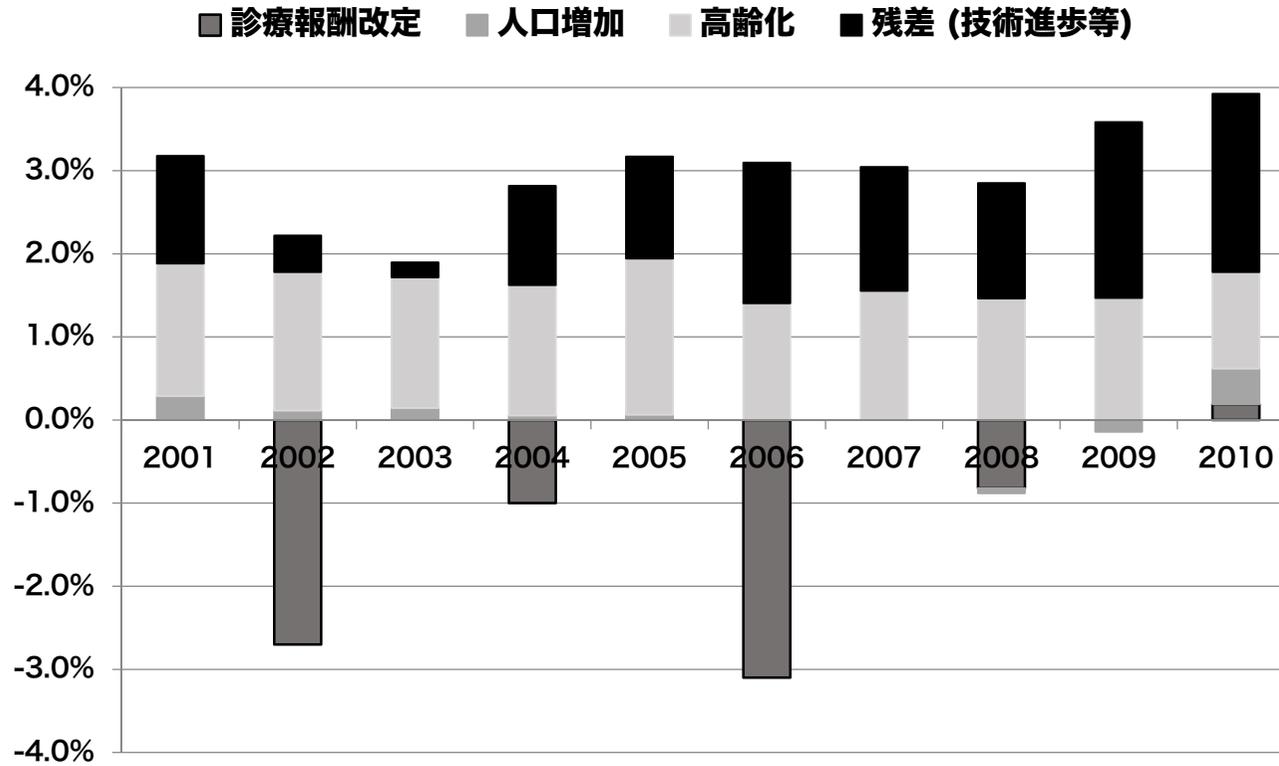
も重視されるようになってきている。

医療費の伸びの経時推移



- ・ 10年平均で2.2%(名目値)、 2.7%(GDP比)伸びている。
(名目GDPは10年平均で-0.6%)
- ・ 対GDP比で6.0%(2000年)から7.8%(2010年)に

医療費増加の要因分析



	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009	2010
高齢化	1.6%	1.7%	1.6%	1.6%	1.9%	1.4%	1.6%	1.5%	1.5%	1.2%
技術進歩等	1.3%	0.4%	0.2%	1.2%	1.2%	1.7%	1.5%	1.4%	2.1%	2.1%

医療の経済評価

- 科学技術の進展により、高額な医療技術が増加している。
- 一方で、先進諸国では高齢化の進展や経済成長の鈍化で医療費自体のパイが限られてきている。

医療経済評価は、医療技術の費用対効果すなわち得られる治療効果とその費用の「かね合い」を考える。(費用が高いから×ではない)

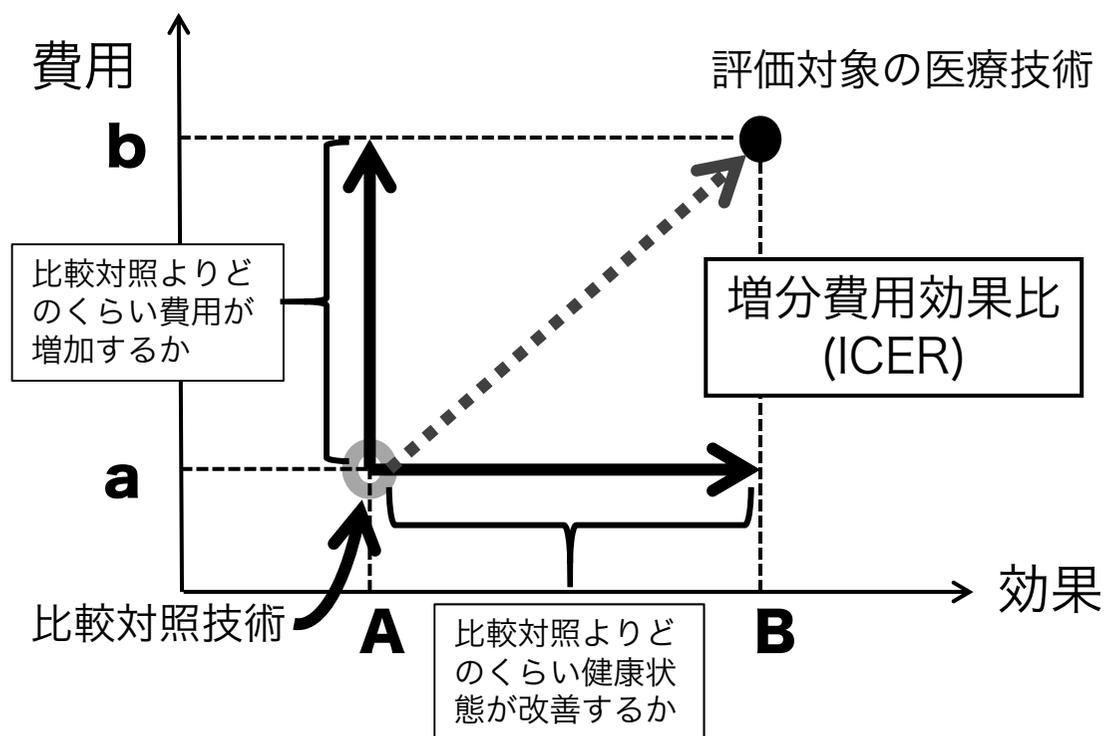


治療費用に見合うアウトカムが医療技術から得られているか

- 日本では意思決定にはほとんど用いられていないが、諸外国では活用されている。

医療経済評価の考え方

$$\text{増分費用効果比} = \frac{\text{b-a 費用がどのくらい増加するか}}{\text{B-A (効果がどのくらい増加するか)}} \text{ (ICER)}$$



- ・ 費用効果分析の結果はICERであらわすことが一般的
- ・ ICERは「1単位の効果」(生存年、QALY等々)を獲得するのに必要な費用である

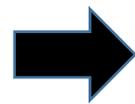
立場の違い

- 患者の立場

- 医師の立場

有効性と安全性を比較考慮した上で、患者にとって最善の治療を選択する。

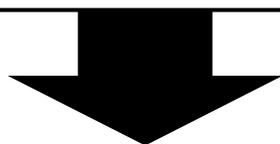
- 社会の立場



必ずしも患者や医師の立場とは一致しないかもしれない。

医療技術評価で重視されるコンセプト

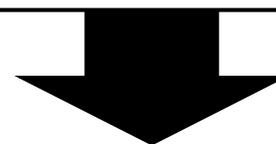
追加的な臨床的有用性
(Added clinical value)



既存の医療技術と比較したときの、追加的な有用性は何か。それらのベネフィットがきちんと科学的に示されているか。

- ・ 真のエンドポイント(生存期間や健康関連QOL等)での評価が重視される傾向がある。
- ・ 実際の臨床現場で用いられている技術との比較も検討されることが多い。

費用対効果
(Cost-effectiveness)

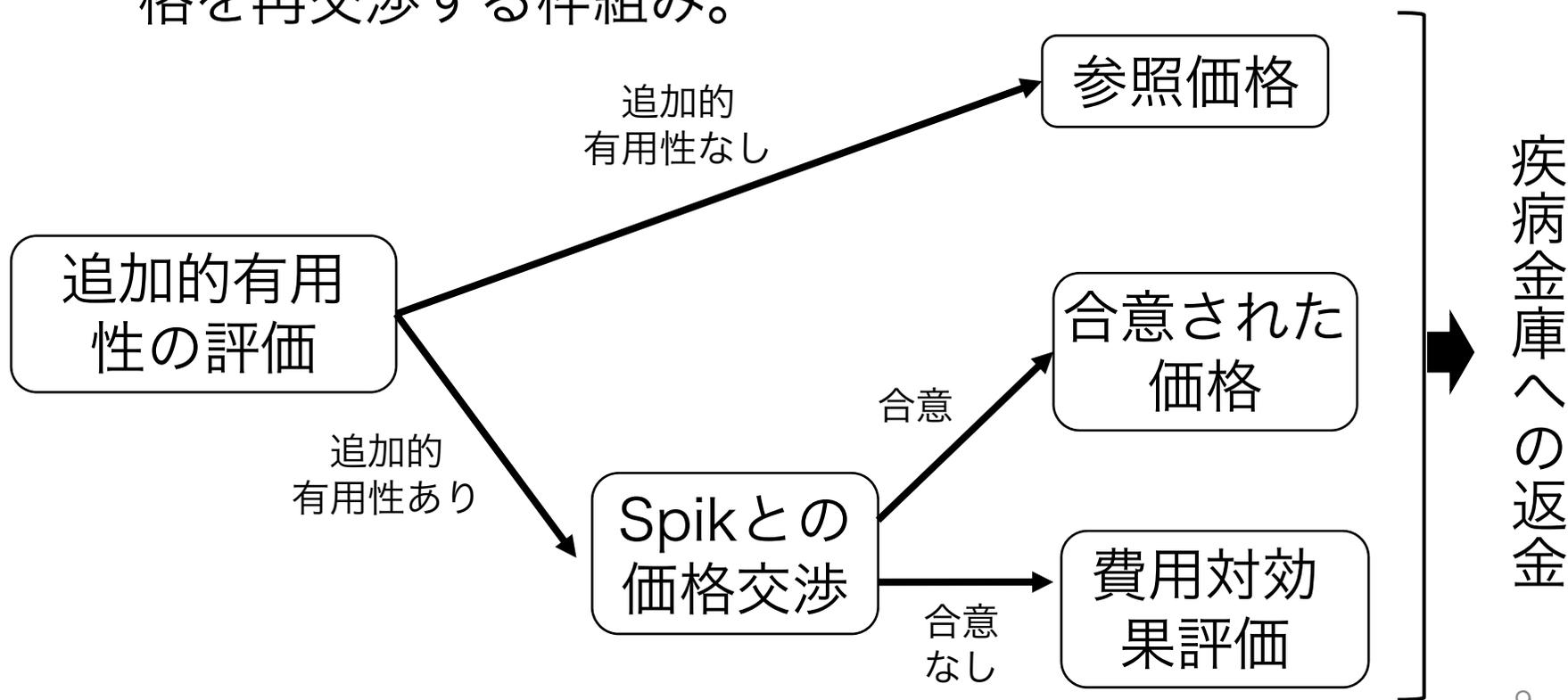


既存の医療技術と比較したときに得られるベネフィットは、医療技術の価格と見合っているか？

- ・ 生存期間を健康関連QOLで重みづけしたQALY(Quality-adjusted life year: 質調整生存年)を用いた評価が行われることが多い。

追加的有用性評価の例(ドイツ)

- 医薬品市場再編法 (AMNOG) に基づく評価
- 追加的有用性を評価し、市販後(約1年以内)に医薬品価格を再交渉する枠組み。



追加的有用性の基準（ドイツ）

		Outcome Category			
		Survival Time (Mortality)	Serious (or Severe) Symptoms (or Late Complications) and Adverse Effects	Quality of Life	Non-Serious (or Non-Severe) Symptoms (or Late complications) and Adverse Effects
Added Benefit	Major sustained and great improvement in the therapy-relevant benefit, which has not previously been achieved versus the appropriate comparator	Major increase in survival time CI ₅ : 0.85 (RR ₁ = 0.50)	Long-term freedom or extensive avoidance CI ₅ : 0.75 (RR ₁ = 0.17) and risk ≥ 5% ²	Major improvement ¹ CI ₅ : 0.75 (RR ₁ = 0.17) and risk ≥ 5% ²	Not applicable
	Considerable marked improvement in the therapy-relevant benefit, which has not previously been achieved versus the appropriate comparator	Moderate increase in survival time CI ₅ : 0.95 (RR ₁ = 0.83)	Alleviation or relevant avoidance CI ₅ : 0.90 (RR ₁ = 0.67)	Important improvement ¹ CI ₅ : 0.90 (RR ₁ = 0.67)	Important avoidance CI ₅ : 0.80 (RR ₁ = 0.33)
	Minor moderate and not only marginal improvement in the therapy-relevant benefit, which has not previously been achieved versus the appropriate comparator	Any (statistically significant) increase in survival time CI ₅ : 1.00	Any (statistically significant) reduction CI ₅ : 1.00	Relevant improvement ¹ CI ₅ : 1.00	Relevant avoidance CI ₅ : 0.90 (RR ₁ = 0.67)
<p>Additions to AM-NutzenV in <i>italics</i></p> <p>1: The precondition is the use of a validated instrument and a validated response criterion. Values count for non-response.</p> <p>2: For at least one of the groups to be compared.</p> <p>AM-NutzenV: Regulation for Early Benefit Assessment of New Pharmaceuticals, CI₅: threshold value for the upper limit of the 95% confidence interval, RR₁: actual relative risk</p> <p>*: Table 32 in the German Appendix</p>					

追加的有用性評価の結果

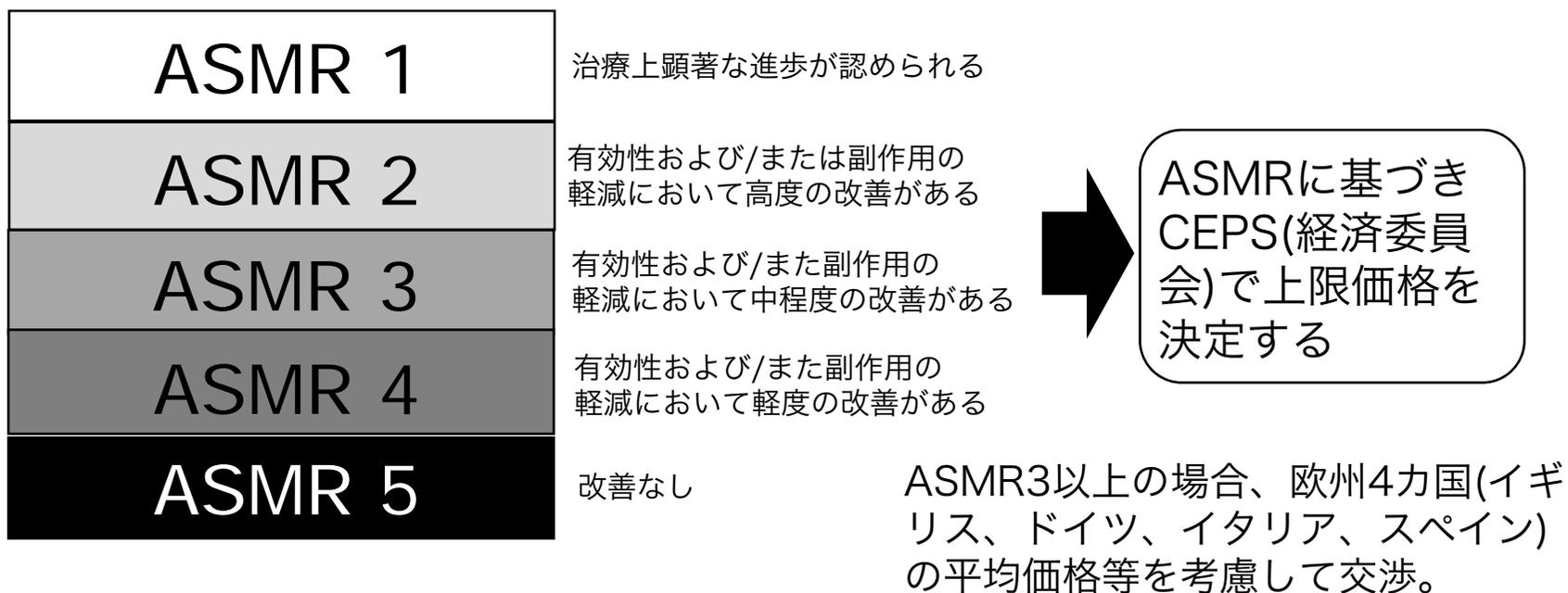
- 評価が完了したものの (2013年2月まで)

追加的有用性 なし	15
追加的有用性 あり	
大 (Major)	0
中 (Considerable)	7
小 (Minor)	3
定量化困難	2
計	27 (IQWiGより提供)

追加的有用性が認められるのは半分以下にすぎない。 11

追加的有用性評価の例 (フランス)

- 5段階のASMR(追加的な臨床的有用性)と呼ばれる基準で評価する。このASMRに基づき、CEPS(経済委員会)が価格交渉を行う。



*ASMRの評価はHAS(高等保健機構)が行う。

追加的有用性評価の結果

ASMR	2008	2009	2010	2011	2012
I-II	7	10	4	1	6
III	5	8	8	2	10
% I-III	13	18	14	5	16
IV	17	20	20	20	22
V	48	65	46	29	58
総計	75	100	85	58	99

ASMR1~3と評価される割合は多くない。

(HASより提供)

医療経済評価の例（イギリス）

- NICE (National Institute for Health and Care Excellence): 1999年ブレアによるNHS改革の中で設立
- 住所の郵便番号によってサービス内容が全く違う
= postcode lottery(郵便番号くじ)

医療への「公平なアクセスの保障」と「医療資源の効率的利用」を目的としてNICEが設立された。

- NICEは(1)公衆衛生 (public health) (2)医療技術 (health technology) (3) 診療 (clinical practice)等のガイダンスを作成する責任を負っている。

医療経済評価の例（イギリス）

- NICEは保健大臣の審査によって決められた一部の医薬品について医療技術評価(HTA)を行いガイダンスを出す。
- ガイダンスでは対象となった医薬品について
 - (1)NHSでの使用を推奨(recommendation)する
 - (2)NHSでの使用を推奨しない
 - (3)一部の患者集団に限定して使用を推奨するという3パターンのいずれかが勧告される。
- これらの意志決定を行う上で臨床的有効性・安全性だけでなく経済性(費用対効果)が重視される。
- 1QALYあたり£20,000~£30,000が費用対効果の基準となっている。
- NICEのガイダンスに強制力はないが、NHSは予算制であるためnegativeな結果が出ると、使用は難しくなる。

抗がん剤の評価

- イギリスのNICEでは、多くの抗がん剤は費用対効果を理由に、使用が推奨されないあるいは使用が制限されている。
- 費用対効果のよくないものは、価格交渉を行い費用対効果が改善した結果として、使用を推奨することも多い。(患者アクセス保障 [Patient Access Scheme: PAS])

抗がん剤に関するガイドンス (2011~)

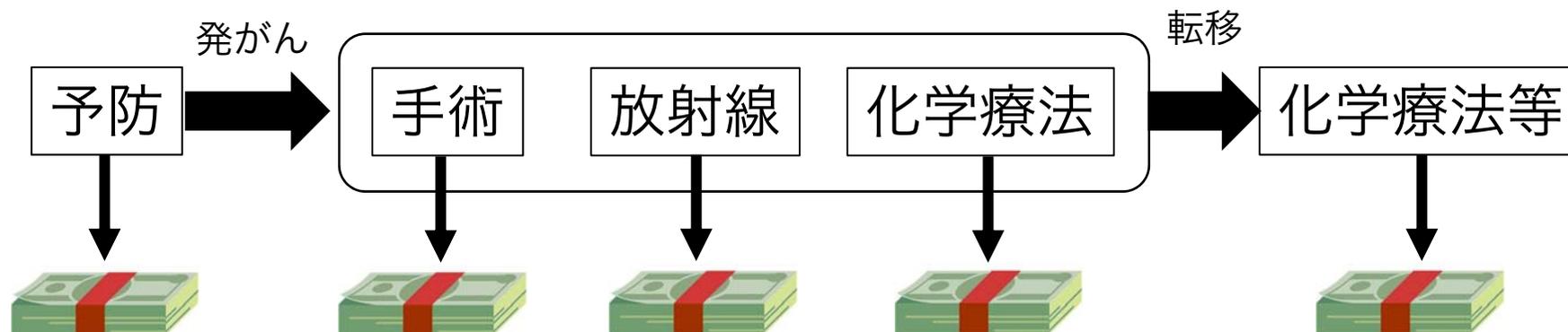
年	No	薬剤名	適応	内容
2011	TA214	ベバシズマブ	転移性乳癌	非推奨
2011	TA215	パゾパニブ	転移性腎細胞癌	12.5%の割引。将来の臨床試験結果に基づいて払い戻す。
2011	TA218	アザシチジン	骨髄異形成症候群/ 慢性・急性骨髄性白血病	PASに基づき割り引く
2011	TA222	トラベクチジン	子宮癌	非推奨
2011	TA235	ミファミルチド	非転移性骨肉腫	PASに基づき割り引く
2011	TA239	フルベストラント	転移性乳癌	非推奨
2012	TA241	ニロチニブ	慢性骨髄性白血病 (イマチニブ耐性)	PASに基づき割り引く
		セツキシマブ		
2012	TA242	ベバシズマブ パニツムマブ	転移性大腸癌 (second line)	非推奨
2012	TA250	エリブリン	転移性乳癌	非推奨
2012	TA251	ニロチニブ	慢性骨髄性白血病 (first line)	PASに基づき割り引く
2012	TA255	カバジタキセル	前立腺癌	非推奨
2012	TA258	エルロチニブ	非小細胞性肺癌	PASに基づき割り引く
2012	TA259	アビラテロン	転移性前立腺癌	PASに基づき割り引く
2012	TA265	デノスマブ	骨転移	PASに基づき割り引く
2012	TA268	イピリムマブ	悪性黒色腫	PASに基づき割り引く
2012	TA269	ベムフェラニブ	悪性黒色腫	PASに基づき割り引く
2013	TA272	ビンフルニン	転移性膀胱癌	非推奨

(※) 否定的な結果のもののみ

がんにおける経済評価の考え方

- 当該技術の医療費のみならず、関連する医療費も含めて検討する。

【固形癌の場合】



上流で優れた技術を開発できれば、下流の医療費抑制効果も見込める可能性がある。(ただし、技術の費用対効果はアウトカム大きさにも依存する)

(参考) NNTとICER

- NNT (Number needed to treat): 何人の患者に予防(治療)を行うと1件のアウトカム(例: 1件の癌予防)は生じるか。

$$\text{介入によってかかる追加的な費用} \times \text{NNT} = \text{増分費用効果比 (ICER)}$$

【予防介入の例】

1件あたりの費用が1万円

×

NNT = 100
(100人に介入して
1件の癌発症予防)

=

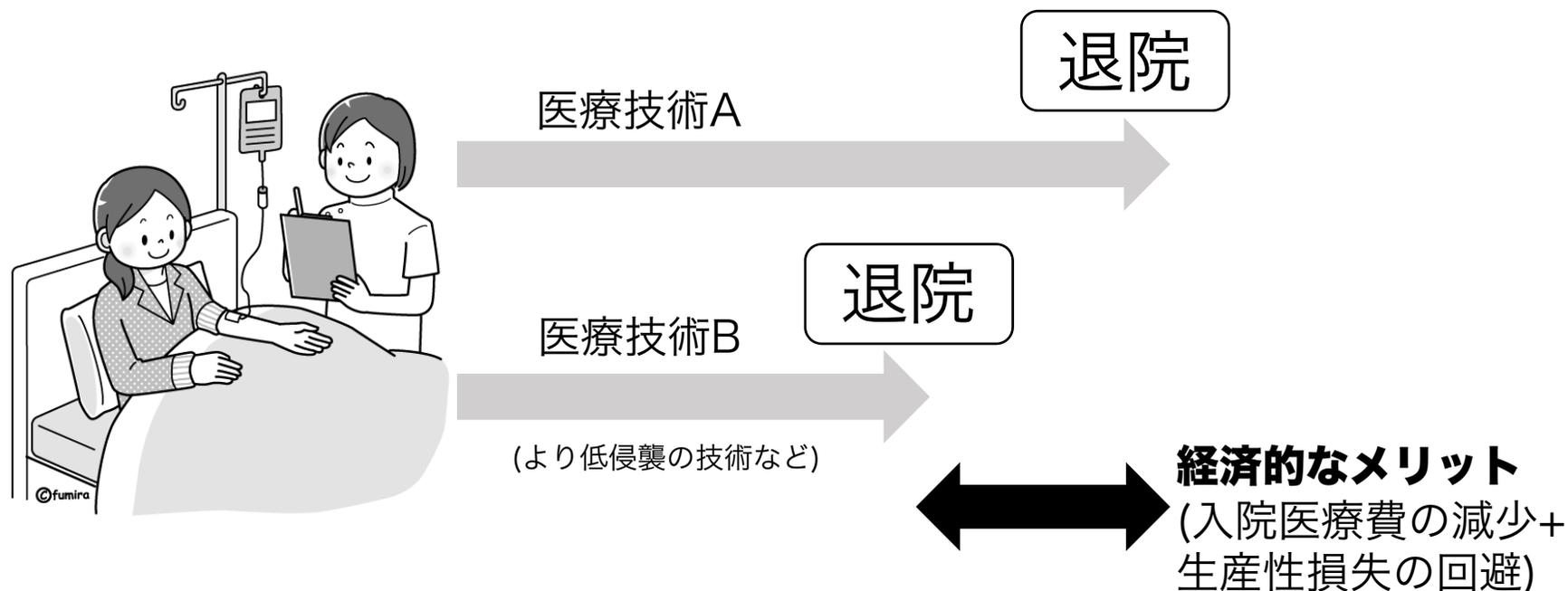
1件の癌発症予防に
100万円かかる



癌治療の費用や延命効果等と比べて価値があるかを評価する。

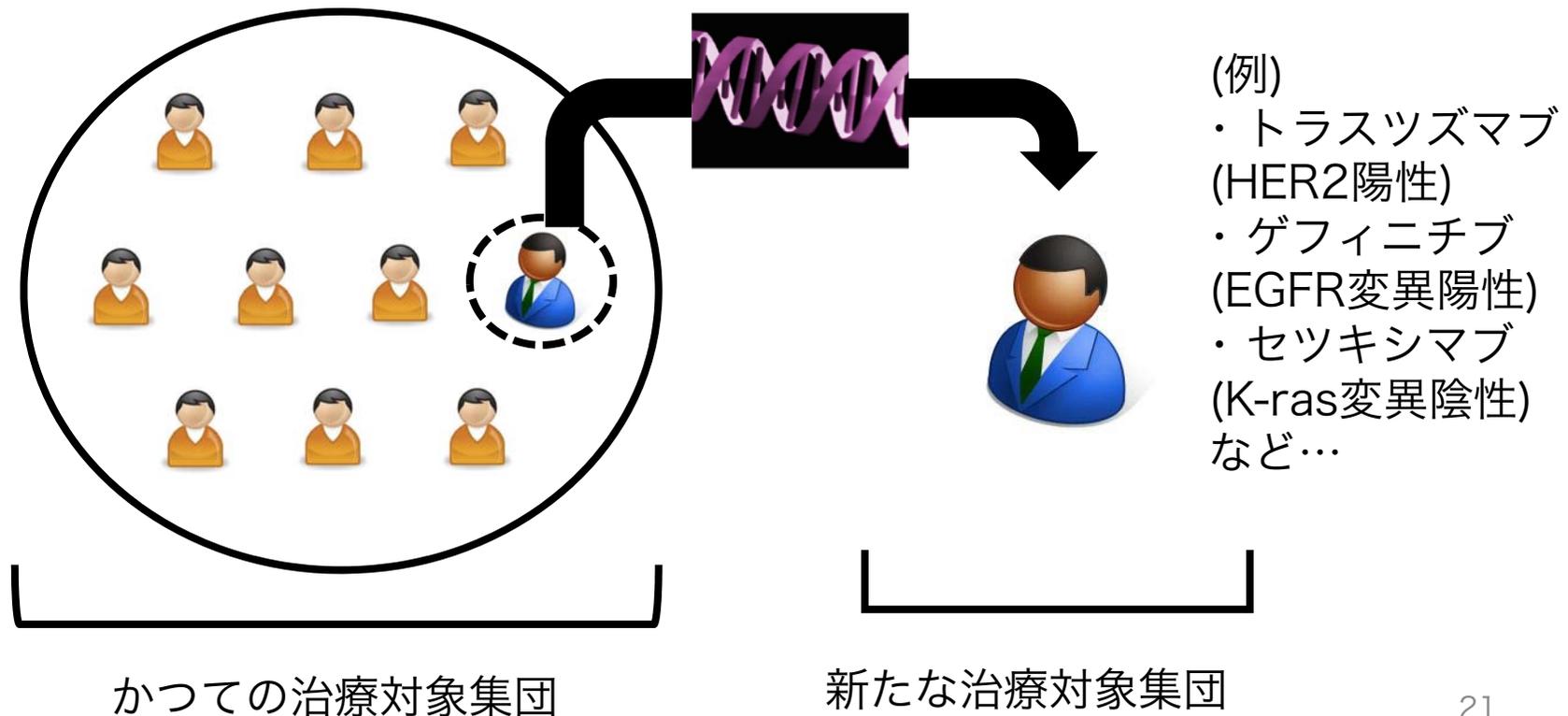
がんにおける経済評価の考え方(2)

- 医療費のみならず、労働生産性の損失も検討することがある。
- 労働生産性の損失には、morbidity costとmortality costに分けられるが、医療の効率性を評価する医療経済評価では前者のみを考慮することが多い。(後者はアウトカムでとらえる)



がんにおける経済評価の考え方(3)

- 治療が有効なサブ集団を同定できれば、費用対効果は改善する可能性がある。



まとめ

- 各国において、追加的有用性や費用対効果を求められることが増えている。
 - 追加的有用性では、生存期間や健康関連QOLといった真のエンドポイントでの改善が既存治療と比べて求められることもある。
 - 追加的にかかる費用が得られる効果に見合っているのか費用対効果を検討する国も増加している。
- これらが明確に示されない場合、費用と時間をかけて医療技術を開発しても、広く使用されなかったり、安い価格しか支払われない可能性もある。
- がん研究においても、これらの要素を意識した「出口戦略」が求められているのではないか。