



**HGPI** Health and Global  
Policy Institute

医療システムの持続可能性とイノベーションの両立  
タスクフォース 有識者報告書

全世代型社会保障に  
求められる  
人生 100 年時代にふさわしい  
健康長寿社会をつくる  
医療システム



## 目次

はじめに		1
謝辞		2
医療システム改革のためのグランド・コンセプト ～人生 100 年時代にふさわしい健康長寿社会をつくる医療システム～		3
エグゼクティブ・サマリー		6
第 1 章「支出の効率性を高める取組」	鎌江 伊三夫	12
第 2 章「社会保障における給付と負担の問題－レギュラトリーサイエンス（RS）の 視点による効果的な研究開発と市場アクセスの改善の取組－」	梅津 光生	22
第 3 章「イノベーションのさらなる促進のためのインセンティブの開発・普及」	中村 洋	28
第 4 章「より良い政策討議、イノベーションのための情報 / データ基盤の強化」	清水 央子	34
第 5 章「医療システムを支える革新的な財源調達力や支払いメカニズムの開発」	小黒 一正	42
第 6 章「バリューベース・ヘルスケアのめざすもの - 医療技術の価値とは -」	五十嵐 中	48
おわりに		56

## はじめに

日本が1961年に国民皆保険制度を確立してユニバーサル・ヘルス・カバレッジを達成して以来、日本の医療保険制度は世界トップクラスの長寿社会を支えてきた。少子高齢化や医療の高度化などの変化によりその持続可能性の担保が喫緊の課題となっているが、これは諸外国に先駆けた健康長寿社会の実現に向けた日本の取組を示す機会でもある。

日本医療政策機構は、2016年以降、保健医療システムにおけるイノベーションと持続可能性の両立プロジェクトを通じて、次世代のヘルスケアシステムの構築における国内の議論を支援してきた。本報告書はこのプロジェクトの成果物の一つである。

日本医療政策機構では2019年初めに、医療制度改革に関連する各ステークホルダーが最も重要だと感じているテーマについて、アンケート調査や専門家インタビューを実施した。そのインタビューから浮かび上がった課題について、経済協力開発機構(OECD: Organization for Economic Co-operation and Development)が2018年11月に発表した「医薬品のイノベーションとアクセスに関する報告書(Pharmaceutical Innovation and Access to Medicine)」を参考に有識者と議論を行い、人生100年時代に向けた社会保障制度とイノベーションの両立による「健康長寿社会の実現」のためにさらなる議論が必要なテーマとして、以下の6つを設定した。

- 支出の効率性を高める取組
- 研究開発にかかる経費を効率的に管理するとともに、市場アクセスを改善する取組
- イノベーションのさらなる促進のためのプッシュ型およびプル型インセンティブの開発・普及
- より良い政策討議のための情報基盤/データ基盤の強化
- 医療システムを支える財源や支払いメカニズム
- 価値に基づく医療

当機構は2019年度にこれらのテーマを議論するための産官学民からなる専門家タスクフォースを立ち上げ、各テーマについてタスクフォースによる議論を深めるとともに、西村 康稔 全世代型社会保障改革担当大臣をはじめとした外部の有識者を招いた専門家フォーラムを開催し、論点を深化させた。

本報告書が日本の医療制度の現状を反映し、各テーマにおける今後の政策議論を進める一助となることを期待する。

## 謝辞

日本医療政策機構（HGPI: Health and Global Policy Institute）は、本報告書の作成にご協力をいただきました以下の専門家の皆様に、改めまして深く御礼申し上げます。

皆様の貴重なご助言に支えていただき、本報告書を公開できますことを大変嬉しく思います。

### <タスクフォース>

メンバー：

市川 衛（日本放送協会（NHK）制作局 第6制作ユニット 新領域開発 チーフ・ディレクター）

今村 聡（日本医師会 副会長）

齋藤 直一（ヤンセンファーマ株式会社 ポリシーインテリジェンス部 部長）

桜井なおみ（キャンサー・ソリューションズ株式会社 代表取締役社長）

長瀬 敏雄（ギリアド・サイエンシズ株式会社 ガバメント・アフェアーズ担当）

吉井 弘和（社会保険診療報酬支払基金 理事長特任補佐）

また、本報告書の著者の皆様に感謝を申し上げます。著者の皆様が各章に注いでいただいた情熱と想いに深く感謝いたします。

五十嵐 中（横浜市立大学医学群 健康社会医学ユニット 准教授）

梅津 光生（早稲田大学 医療レギュラトリーサイエンス研究所 所長）

小黑 一正（法政大学 経済学部 教授）

鎌江伊三夫（東京大学公共政策大学院 特任教授）

清水 央子（東京大学大学院薬学系研究科 ITヘルスケア社会連携講座 特任准教授）

中村 洋（慶應義塾大学大学院 経営管理研究科 教授）

オブザーバー：

川口 俊徳（経済産業省 商務・サービスグループヘルスケア産業課 企画官）

迫井 正深（厚生労働省 大臣官房 審議官（医政、医薬品等産業振興、精神保健医療、災害対策担当）（老健局、保険局併任））

西川 和見（経済産業省 大臣官房参事官（情報産業戦略・ヘルスケア産業総括））

八幡 道典（財務省 主計局 主計官（厚生労働係第一担当））

### <専門家フォーラム>

登壇者：

宇波 弘貴（財務省主計局 次長）

遠藤 久夫（社会保障審議会 会長（国立社会保障・人口問題研究所 所長））

黒川 清（日本医療政策機構 代表理事）

佐野 雅宏（健康保険組合連合会 副会長）

島崎 謙治（政策研究大学院大学 教授）

西村 康稔（衆議院議員／経済再生担当大臣／全世代型社会保障改革担当大臣／経済財政政策担当大臣）

本報告書の作成はHGPIの以下のスタッフが支援いたしました。

佐藤 大輔（日本医療政策機構 インターン）

坂内 駿紘（日本医療政策機構 プログラム・スペシャリスト）

柴田 倫人（日本医療政策機構 シニアアソシエイト）

菅原 丈二（日本医療政策機構 シニアアソシエイト）

坊野 成寛（日本医療政策機構 プログラム・スペシャリスト）

マツト マカナニ（日本医療政策機構 シニアマネージャー）



## 医療システム改革のためのグランド・コンセプト

～人生 100 年時代にふさわしい健康長寿社会をつくる医療システム～

「医療システム改革のためのグランド・コンセプト」は、日本医療政策機構（HGPI: Health and Global Policy Institute）が 2019 年度に企画した「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」プロジェクトにおける産官学民からなるタスクフォースの議論を事務局が整理したものである。

タスクフォースの議論では、「医療」「価値」「無駄」「費用」などについて多様な捉え方を残しながらも、下記の 3 つの軸に沿った形で議論を実施した。

1. 効果的な医療の提供を持続的に実現し、さらなる効率化・適正化が求められる
2. 医療システムの改革にかかる費用は負担ではなく、国民の健康を改善しうる未来への投資である
3. 疾病の回復だけでなく、健康寿命の延伸に資する医療システムの構築が不可欠である

世界的に拡大した新型コロナウイルス感染症（COVID-19）は、ヒト（医療・福祉・介護従事者など）、モノ（人工呼吸器、感染防護用具など）、ハコ（医療施設、病床など）に対する国民の考え方を変えた。これまで「無駄」と考えられていたものに有事対応に貢献する緩衝作用があることが明らかとなり、今後の医療システムには自然災害などを含めた有事への対応可能性を考慮した「適度な余地」が必要になるという考え方が広まりつつある。また、現在の我が国を支える国民皆保険制度は約 60 年間にわたり世界トップクラスの長寿社会を支えてきたが、近年の少子高齢化や人口減少に伴う人々を取り巻く環境の変化により、その持続可能性は脅かされている。こうした社会環境の変化や未知の自然災害に対応できる、人生 100 年時代にふさわしい、国民の健康寿命の延伸を可能にする医療システムへの改革が必要である。そのような理想的な医療システムを実現するためには、投資、効率化、健康寿命の延伸という上記 3 つのコンセプトに基づく政策を進める必要がある。

### 1. 効果的な医療の提供を持続的に実現するための効率化・適正化

健康寿命の延伸につながる持続可能な医療システムを構築するためには、効果的な医療を提供しつつ、さらなる効率化・適正化を行うことが求められる。しかし、上述したような「無駄」の定義や、「不要・不急」の概念などについては慎重な議論が必要である。そのうえで、医療提供体制におけるさらなる効率化・適正化を目指すとともに、功利主義・平等主義など医療倫理の原理原則レベルでの議論や価値の議論に基づく意思決定が求められる。このコンセプトを達成するために必要な政策を以下に整理する。

#### 多様な価値観に基づく医療政策を実現する

当事者の価値を政策決定プロセスに反映することが重要である。患者や社会など多面的な視点から価値を捉え、それに基づいた意思決定を行うことが必要である。例えば、新規の医療技術を生産性喪失の有無で評価する等、より厳しい基準でイノベーションを評価すること、保健医療全般を対象にした包括的な医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）を実施すること等が挙げられる。

#### 医療データで医療の効率性を追求する

限りある金銭的・人的・物的医療資源を最適に配分しなければならない。「賢い選択（Choosing Wisely）」を理解・実践することにより、人々の行動様式が大きく変わる可能性がある。また、予防、検査、治療等の各ステージにおける効率化・適正化が促される可能性があるため、このような行動変容を促すためのインセンティブの導入を検討する必要がある。例えば、過度な多剤併用を抑制する、もしくは減薬を含む適正使用を推進するようなインセンティブなどが考えられる。

健全な医療提供体制の必要性は、今回の COVID-19 においても明らかになった。効率的かつ適正な医療提供体制の構築には、客観的な事実（ファクト）の蓄積（データ）に基づく検討が不可欠である。日本では、民間企業が構築したレセプト情報などを集積したデータベースが先行して利用されてきているが、全国のレセプトデータを集積したレセプト情報・特定検診等情報データベース（NDB: National Database of Health Insurance Claims and Specific Health Checkups of Japan）、各医療施設に保管されているカルテ等情報を集積したデータベースなど、粒度あるいは悉皆性の高いさまざまなデータベースの構築も進んでおり、エビデンスに基づく政策立案（EBPM: Evidence Based Policy Making）の基盤が整いつつある。しかしこれらのデータを最大利用するためには、解析環境やマスターデータなどインフラの整備が急務であり、早急な対応が求められる。

#### イノベーションへの迅速なアクセスを確保する

効果の大きさを実感できるイノベーションが、市場に迅速に提供される必要がある。革新的な医療技術の迅速な市場アクセスの確保及び当該技術の安全性の観点から、非臨床（動物実験の必要性、シミュレーションの利用など）及び承

認後の評価の在り方（条件付早期承認制度など）を最新の科学的知見に基づき整備する必要がある。また、海外で承認された医薬品等の相互承認等、研究開発の効率化を国内外で促進する必要がある。多国間協議を推進し、世界各国での同時承認を担保する取組を進める必要がある。その取組自体が研究開発インセンティブの共有化となる。

## 2. 医療システムの改革にかかる費用は未来への投資

医療システムにかかる費用は負担ではなく、国民の健康を改善しうる未来への投資である。社会保障は、国民の健康を守り、健康を損なう際の不安を乗り越えていくために、自助、共助および公助の最適なバランスの中で、リスクや不確実性に対するセーフティネットを提供する必要がある。この社会保障の果たす役割を持続可能なものにするためには、有事に対する危機管理の視点を踏まえた投資の対象の優先順位を明確にし、限られた資源の適切な配分が必要となる。このコンセプトを達成するために必要な政策を以下に整理する。

### 財源を確保する

限られた財源を適切に配分し、医療システムの持続可能性を高めなければならない。例えば、GDPの成長率を超えて高騰を続ける医療費に適切に対処するために、マクロ経済スライド（後期高齢者医療制度に関する診療報酬の伸びを緩やかに抑制）を用いた医療費の自動調整メカニズムを導入し、医療費の予算統制を行ったうえで、「大きなリスクは共助で、小さなリスクは自助で」という哲学的考え方に基づき、限りある医療資源を利用することが考えられる。この考え方に基づき、「医療費による家計の破綻や困窮を防ぐために、軽度かつ発病率の高い疾病の自己負担の割合を高め、重度かつ発病率の低い疾病の自己負担の割合を低くすること等を検討する必要がある。」との意見もある。

一方で、マクロ経済スライドを導入するのであれば、企業や家計の負担にも配慮しながら、保険料に導入することも考えられる。また、社会保障は自助・共助・公助で成り立っていることから、それぞれのバランスをとりながら、時代に対応できる給付と負担のあり方という視点に立って議論することも重要である。例えば、自助については所得や金融資産の多寡に応じた負担、公助については消費税のほか、健康リスクに対して課税する考え方に基づくシン・タックス（Sin Tax）を含め、その他の財源確保の検討も重要である。

### イノベーションに投資する

健康を改善するイノベーションを促進するには、市場の予見性を確保することが重要である。多剤併用などの削減対象に対する逆プル型のマイナスのインセンティブ、投資の対象となるプッシュ型やプル型のプラスのインセンティブ、予見性を高めるリスク低減型のインセンティブを効果的に使いわけメリハリのある改革の推進が求められる。インセンティブ・ミックスを検討する検討会を設置すべき。

また、保険財政の持続可能性と産業競争力の向上を両立する観点から、代替薬が存在せず、有用性が高いと認められた医薬品については、不確実性の高い政治的な対応を排除するため、例えば10年間という期限を設けて特別枠1兆円（GDP比0.2%）の扱いとし、基本的に薬価引き下げの対象外とするなどの政策を検討する必要がある。

### 医療システムの基盤となるデータベースを拡充する

医療データで医療の効率性を追求するとともに、投資対象を判断するために包括的な情報源としてのデータベースが必要である。現在の医療情報データベースの中心的な役割を担うNDBはその規模の大きさからも活用が期待されているが、データ構造の複雑さ、申請手続きの煩雑さ、データの提供までの期間が長いこと、さらには患者IDやマスターデータが未整備であること等、データの利用しやすさ（アクセシビリティ）が限定的であり、その価値が最大限に活用されているとはいえない状況にある。散在しているデータを突合し、ビッグデータとしての活用を推進するために、描かれたグランドデザインの下にデータ解析プラットフォームを構築する必要がある。その中で、個人単位で健康、医療関連のデータを集積し管理するパーソナル・ヘルス・レコード（PHR: Personal Health Record）は、情報の粒度が高く、患者・疾患の背景情報やアウトカムを一気通貫で把握できるという点でも有効であり、推進が期待される。医療に係る情報の所有者が各個人、患者自身であるため、自律性の向上や個人が持つ能力の発揮（エンパワメント）が促され、賢い医療の利用の促進にも貢献できる可能性がある。

人工知能（AI: Artificial Intelligence）などを活用した検査・診断支援や医療用アプリが多様に活用され、有事における迅速かつ有効な情報収集や対応など、医療の質の向上とその効率化に貢献するイノベーションの促進が可能となる。そのために、次世代データ・イノベーションを促進する効果的かつ適切な投資を推進すべきである。同時に、個人情報漏洩などデータセキュリティに対するリスクについての啓発だけではなく、データの利活用を推進する側から、データを活用した健全な医療、それにより広がる「明るい未来」について発信していくことも重要である。

### イノベーションを評価できる人材を育成する

上記の取組を含め、妥当な医療政策を実現するために必要な、HTA、革新的な医薬品等の評価（レギュラトリーサイエンス）、データサイエンス等の専門家を養成する必要がある。

### 3. 疾病の回復だけではない健康寿命の延伸

人生 100 年時代には、疾病の回復だけではなく、健康寿命の延伸に資する医療システムの構築が不可欠である。疾病の治癒と生命維持を目的とした「キュア」中心の考えから、生活の質（QOL: Quality of Life）の維持・向上を目的とした「ケア」中心の考えへの転換が求められる。生活の質の維持・向上により、健康に社会参画できる人口を増やし、社会の生産性・人々の充足感を高めることは、今後さらなる少子高齢化が進んでいく日本にとっての大きな課題である。上述した「効果的・効率的な医療の提供」と「最適な医療システムへの投資」により、医療システムの持続可能性を担保し、人生 100 年時代にふさわしい医療システムを実現する必要がある。



## エグゼクティブ・サマリー

日本は1961年に国民皆保険を達成し、すべての国民が質の高い医療を受けることができるようになった。この医療制度がカバーしていた当時の日本は人口約9,500万人、平均寿命68.31歳、65歳以上が占める割合は人口の約6%、合計特殊出生率1.96であった。<sup>1</sup>

その後、日本の人口構造は大きく変化した。現在の人口は約1億2700万人、65歳以上が占める割合は人口の27.2%、合計特殊出生率は1.45であり、世界的に類を見ない速度で少子高齢社会が到来した。<sup>1</sup> 平均寿命については、医学の進歩により約84歳となり世界トップクラスの長寿国となったが、人口に占める65歳以上の割合については、今後さらに増加し2060年には最大40%になると予測されている。<sup>2</sup>

このような人口構造の変化は医療財政に大きな影響を与えている。1990年以降、日本の社会保障費の伸び率は経済成長率を上回り続け、<sup>3</sup>65歳以上の平均医療費は0歳から64歳までの平均医療費の5倍であり、<sup>3</sup>高齢者扶養率は現在約40%で2060年には80%近くまで上昇すると予測されている。<sup>4</sup>このような少子高齢化に伴う、支え手世代の減少等の課題が、現在の社会保障システムの持続可能性を脅かしている。

このような背景から政府は近年、健康寿命の延伸を目指す医療制度の改革が必要であるとし、人生100年時代に向けた改革を推進するための様々な取組を開始している。その中には、健康に年齢を重ねるための取組の導入、全世代型社会保障改革、社会保障における給付と負担のバランスの見直しなどが含まれている。これらの取組が実現することで医療制度の持続可能性につながり、生活の質（Quality of Life）の向上、健康寿命の延伸、生産性の向上が達成できることを期待している。<sup>5</sup>

しかしながら、医療制度は非常に煩雑であり、実現には多くの課題について議論を進めていく必要がある。

日本医療政策機構は、2016年以降、保健医療システムにおけるイノベーションと持続可能性の両立プロジェクトを通じて、産官学民の議論を支援してきた。当機構では2019年初めに、医療制度改革に関連する各ステークホルダーが最も重要だと感じているテーマについて、アンケート調査や専門家インタビューを実施し、そこで特定された課題を、2018年11月にOECDが発表した「医薬品のイノベーションとアクセスに関する報告書（Pharmaceutical Innovation and Access to Medicine）」を参考に以下の6つのテーマに集約した。

- 支出の効率性を高める取組
- 研究開発にかかる経費を効率的に管理するとともに、市場アクセスを改善する取組
- イノベーションのさらなる促進のためのプッシュ型およびプル型インセンティブの開発・普及
- より良い政策討議のための情報基盤／データ基盤の強化
- 医療システムを支える財源や支払いメカニズム
- 価値に基づく医療

上記のテーマについて検討するタスクフォースを立ち上げ、今後日本が進むべき道を議論した。本書の各章はこれらのテーマに沿い、タスクフォースでの議論を各筆頭著者がとりまとめたものである。以下に各章の内容について簡潔に紹介する。

### 第1章「支出の効率性を高める取組」 鎌江 伊三夫

近年、分子標的薬や再生医療など革新的医療技術が登場している。一方、それらの医療技術の多くは高額であり、国民皆保険システムの持続可能性を脅かしている。そのため、医療技術にかかるコストと、それによりもたらされる患者の価値の最大化についての議論が求められている。本章では、OECDによる「医薬品のイノベーションとアクセスに関する報告書（Pharmaceutical Innovation and Access to Medicine）」と現在の日本の状況を比較した。その結果、「ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC）の直方体」の3要素である給付対象、給付サービスの範囲、および費用負担の相互関係を考慮した国民皆保険への体系的なアプローチと、正負の投資バランスが取れた新循環型投資システムとを連関させることで、支払い可能性と持続可能性を高めることができると考えられた。さらに、HTAはUHCの直方体と新循環型投資システムとを結びつける重要な鍵であるため、HTA専門家の養成も喫緊の課題となる。

## 第2章「社会保障における給付と負担の問題－レギュラトリーサイエンス（RS）の視点による効果的な研究開発と市場アクセスの改善の取組－」梅津 光生

人生100年時代に向けて、健康を促進するためにはイノベーションが必要である。しかしながら、医薬品や医療機器のイノベーションは仮説の創出と効果の検証にかかる金銭的・人的・時間的負担が非常に大きい。したがって、それらのコストを低減し、新たな医療技術を患者に早く届けるための新しい評価系の創出が必要である。本章では主に医療機器の研究開発における課題を、費用、効率性、市場アクセスの3つの観点から整理する。また、医療機器の貿易収支の推移等から日本の医療機器および医薬品産業の現状を説明する。第4項では、OECDの提言に含まれる政策オプション（規制基準の調和、市場アクセスの加速化）を、国内の取組を参照しながら評価するとともに、レギュラトリーサイエンス（RS）人材の育成という政策オプションの重要性および必要性を主張する。最後に、医療機器の迅速な承認と市場への展開という視点から、補助人工心臓（EVAHEART）およびクラスIV医療機器の評価方法にかかる開発事例を紹介する。

## 第3章「イノベーションのさらなる促進のためのインセンティブの開発・普及」中村 洋

日本を含めた世界中で、革新的新薬の研究開発促進と薬剤費上昇抑制の両立を目指しているが、開発ラグ、高額医薬品、ポリファーマシーや残薬等の問題が存在し、その両立を困難なものとしている。財源に限られる中で、日本がこれらの問題を解決するためには現行の承認審査制度の見直しや新しいインセンティブの導入について議論する必要がある。そこで、本章では、イノベーションの促進に求められるインセンティブの類型化を行い、日本の現状を考察した上で、最適なインセンティブの組合せ等について検討する。第3項では日本の現状を3つの視点（アクセス【Access】、コスト【Cost】、クオリティ【Quality】）から概観し、重点的に促進すべきイノベーションについて言及する。そして第4項にてそれぞれの視点に基づいた改革にあたっての考え方（哲学）を明示し、プッシュ型、プル型、逆プル型又はリスク軽減型インセンティブによる具体的な政策オプションについてのタスクフォースでの議論を整理する。最後に、政策オプションの実現可能性を高める観点から、今後の議論の進め方についての5つの留意点を指摘する。

## 第4章「より良い政策討議、イノベーションのための情報/データ基盤の強化」清水 央子

医療の発展と患者のアウトカム向上に資する情報源として、「エビデンスに基づく医療政策、医療経済の適正化、イノベーションのための臨床開発、そして個人の健康管理など、多くのステークホルダーにとって有益な情報」を提供してくれる医療情報データベースとその解析プラットフォームが必要である。しかしながら、日本においては、NDBオープンデータやDPC公開情報など情報の粒度や項目数、全国の悉皆性が異なる“スモール”データが散在している状況であり、利便性の良い“ビッグ”データは存在しない。“スモール”データの状態では、複数のデータを組み合わせる手間がかかるため、データの統合が必要であり、そのための金銭的・人的・時間的資源の不足が問題となっている。加えて、個人情報等の法整備等、PHR(Personal Health Record)普及のための環境整備といった課題も解決しなければならない。そこで、本章では、医療システムの持続可能性とイノベーションの両立に向けたデータ基盤のあり方および強化の方策について考察する。第2項および第3項では、日本の医療情報データをトレーサビリティおよび網羅性（悉皆性）の観点から俯瞰した上で、その中心に位置するレセプト（診療報酬明細書）および全国のレセプトのほぼ全数を格納するNDBの特性について、それらを活用する際の課題とともに解説する。第4項および第5項では、前項までに明らかにされた課題に対する具体的な解決案を提示し、時間軸および実現可能性の観点からその解決策を考察する。

## 第5章「医療システムを支える革新的な財源調達力や支払いメカニズムの開発」小黒 一正

日本の政府債務残高の名目GDP比は戦前の水準を超えて伸び続けており、財政状況は厳しい。特に社会保障費と医療費の膨張が大きな問題となっており、社会保障給付費は2040年度まで2.5%ポイント増で推移する見通しである。医療システムを持続可能なものとするには、社会保障給付費をコントロールする手段についての議論が必要である。そこで、本章では、「財政的リスク保護」という公的医療保険の重要な役割を堅持した上で、改革の優先順位を定める必要性を説明する。第2項では優先順位を定める際の重要変数である「市場規模(P×Q)」および「年間の標準治療費」について、医薬品を例に解説し、第3項では「医薬品の保険給付範囲の見直し・特別枠の設定」、「医療版マクロ経済スライド」および「消費税やそれ以外の財源調達」に関する政策オプションを、財政インパクトや他国での事例を踏まえて提案する。

## 第6章「バリューベース・ヘルスケアのめざすもの - 医療技術の価値とは -」五十嵐 中

健康寿命の延伸を目指すためには、価値(value)に基づく保健医療の促進が求められている。日本では医療技術評価(HTA)が本格的に導入され広く知られてきたが、費用対効果評価は価値を測れるものさしの一つであること、すなわち、その適用可能な範囲を正しく認識することが求められる。本来、「価値」は、多面的な要素で構成されることから、評価軸の設定の仕方により解釈は異なり得る。そこで、本章では価値の評価軸を設定する上で考慮すべき事項を多角的に考察する。まずは1QALYの価値について、次に「1QALYの許容範囲、すなわち基準値設定について、他国での

取組を紹介し解説する。具体的には、基準値を設定する場合のリスク（がん領域の高額医薬品などが保険償還の対象とならず、患者アクセスが制限されること）とその対策（企業と規制当局間の妥協点を見出す患者アクセススキーム（PAS: Patient Access Scheme）制度）をイギリスの事例から、基準値を設定しない場合の考え方（真のアウトカムデータ必要性）をフランスの事例から紹介する。その上で、今後の日本の医療システムの在り方を検討する際の論点をまとめる。

- 
1. 国立社会保障・人口問題研究所「人口統計資料集」  
<http://www.ipss.go.jp/syoushika/tohkei/Popular/Popular2020.asp?chap=0> [最新アクセス 2020年6月5日]
  2. 国立社会保障・人口問題研究所「日本の将来推計人口（平成29年推計）」  
[http://www.ipss.go.jp/pp-zenkoku/j/zenkoku2017/pp\\_zenkoku2017.asp](http://www.ipss.go.jp/pp-zenkoku/j/zenkoku2017/pp_zenkoku2017.asp) [最新アクセス 2020年6月5日]
  3. 厚生労働省「医療保険制度改革の背景と方向性」2015年2月12日  
<https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-12600000-Seisakutoukatsukan/0000089363.pdf> [最新アクセス 2020年6月5日]
  4. 国際連合「World Population Ageing 2019 Highlights」  
<https://www.un.org/en/development/desa/population/publications/pdf/ageing/WorldPopulationAgeing2019-Highlights.pdf> [最新アクセス 2020年6月5日]
  5. 内閣府「経済財政運営と改革の基本方針2019」（2019年6月21日）  
[https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/2019/2019\\_basicpolicies\\_ja.pdf](https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/2019/2019_basicpolicies_ja.pdf) [最新アクセス 2020年6月5日]



## 第1章 支出の効率性を高める取組



東京大学公共政策大学院 特任教授  
鎌江 伊三夫

東京大学公共政策大学院特任教授として医療政策・技術評価研究ユニットを担当。キャノングローバル戦略研究所研究主幹を兼務。京都大学工学部・大学院修士（情報工学）卒、神戸大学医学部卒（医師）、ハーバード公衆衛生大学院修士・博士卒（医療意思決定科学の博士号取得の初の日本人）。国際医薬経済学・アウトカム研究学会 ISPOR や国際医療技術評価学会 HTAi の理事、WHO や OECD の専門家委員などの要職を務め、国際的に活動中。

### 1. 序説

近年、医学・医療を取り巻く環境に大きな変化が生じている。少子高齢化社会が進行する中で、医療技術の高度化と情報化が進み、分子標的薬や再生医療、あるいは遺伝子検査など革新的だが高額な医療技術が続々と登場している。実際、国民医療費は増加の一途をたどり、少子高齢化社会に伴う社会経済的負担の問題への危機感が増している。国民皆保険制度を持続可能なものとするためには、効率的な医療資源の配分が社会的課題となってきた。

その対応策として医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）が注目されるようになってきている<sup>1),2)</sup>。それは、「医療技術の適用に関する医学的、社会的、経済的、および倫理的問題についての情報を、系統的で透明、かつ、偏りのない頑健な方法で要約する学際的な一連の過程」を意味し、その目的は、安全・有効で患者本位な医療政策の策定について情報を提供し、最善の価値の実現に努めることである。従って、HTA では、支出に対するリターン、すなわち医療技術が患者にもたらす価値を最大化する効率が重要となる。

HTA を政府レベルの公共政策として実施する取組は、90 年代初めにオーストラリア、カナダ政府によって導入されたが、20 世紀末以降、英国他欧州連合（EU: European Union）諸国を中心に急速に発展した。例えば、英国の国立医療技術評価機構（NICE: National Institute for Health and Care Excellence）、フランスの高等保健機構（HAS: Haute Autorité de Santé）、ドイツの医療品質・効率性研究機構（IQWiG: Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen）がよく知られた HTA 組織である。その動静はアジアにも影響を与え、韓国、台湾、タイ、マレーシアなど、アジア諸国でも公的な HTA 組織が続々と創設されている。一般に HTA 組織の活動の焦点は、医療技術の費用対効果の検証と価値に基づく医療の推奨に当てられている。

そのような国際的な流れを受けて、わが国でも 2016 年 4 月より、厚生労働省中央社会保険医療協議会（中医協）による費用対効果評価が試行的に導入された<sup>3)</sup>。本来、医療技術の費用対効果評価は、HTA のひとつの側面に過ぎない。とは言え、費用対効果の評価の必要性については中医協のコンセンサスが形成され、3 年間の試行的な実施を経て 2019 年 4 月より制度化され、本格的な運用が始まった。この中医協による新 HTA は、世界初の増分費用効果比（ICER: Incremental Cost-Effectiveness Ratio）に基づく価格決定であることが大きな特徴である。

一般に効率性とは、資源・財の配分について無駄のないことを意味するが、HTA の文脈では効率的フロンティアの概念が前提となる。すなわち、効率的フロンティア（EF: Efficiency frontier）とは、与えられたいくつかの医療技術（例えば、高血圧治療薬のいくつかの異なる品目）に対して、それらの費用対効果を費用と効果の 2 次元平面上で示すことによって得られる費用対効果の良否の領域境界を意味する。例えば、図 1 に示されるような医療技術（たとえば医薬品）Q1 から Q4 の 4 品目の費用と効果が与えられているとする。このような 2 次元平面上での費用と効果のペアでの表現により、費用対効果に関する効率性の解釈が可能となる。例えば、図 1 中の技術 Q 4 にかかる費用の無駄を省くことによって同じ医学的効果をもつ点 Q\*4 に移動できれば明らかに費用対効果が改善する。いわゆる費用節減による効率化（タイプ A）である。一方、費用の増加は避けられないにしても、増加する費用に対して一定の効果増がある場合、効率的フロンティア上で受容される技術として 2 つのタイプのイノベーションが考えられる。すなわち、フロンティア曲線上での自然な延長としての Q\*4 への移動（タイプ B）、および上位のフロンティア曲線上の点 Q\*4 へのジャンプ（タイプ C）である。通常の技術改善のレベルのイノベーションでは費用対効果の一定の悪化はやむを得ないことを効率的フロンティア曲線は示している。この考え方に立てば、タイプ B は、通常の技術改善のレベルのイノベーションであり、費用対効果の一定の悪化はやむを得ないことを示す。一方、費用対効果が改善する点 Q\*4 は望ましい画期的なイノベーションと位置付けられる。

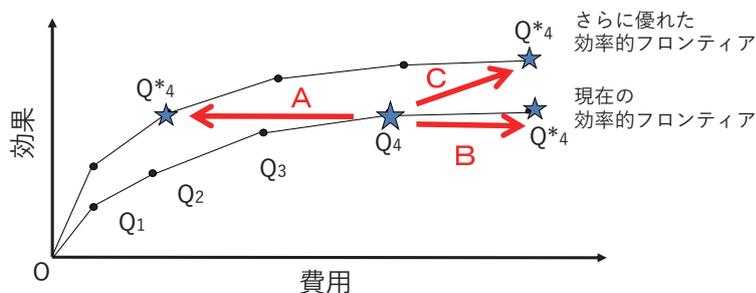


図1. 効率的フロンティア (EF) 曲線

- イノベーションの3タイプ (技術 Q4 から Q\*4 を開発)
- タイプ A : 費用節減による効率化
- タイプ B : EF 曲線上での延長
- タイプ C : 上位の EF 曲線へのジャンプ

以上のような HTA と関連して、医療技術の費用と効率性への懸念に基づいて、2018 年 11 月末、経済協力開発機構 (OECD: Organisation for Economic Co-operation and Development) による「医薬品のイノベーションとアクセスに関する報告書 (Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines)」<sup>4)</sup>が出版された。これは、G7 神戸保健大臣会合 2016<sup>5)</sup>を受けての提言である。そこで、本章は、その OECD 提言を日本の医療システムに投射し、現状はどうか、あるいは今後の課題は何かを討議したタスクフォースの論点を報告し、今後の取組への提言を行う。

## 2. 課題の背景・経緯

OECD によれば、その報告書は、2017 年、当時の加盟国 35 カ国の保健大臣から「政府および関係者が直面する課題として、どのようにすれば新規医薬品を必要とするすべての人が適正な価格で入手でき、一方、イノベーションへの取組は維持できるのかについて報告してほしい」との要請を受けて書かれたとされる。OECD にとって、2016 年 G7 神戸保健大臣会合由来の課題への解答であった。

2016 年の G7 保健大臣会合は、日本では初めての開催であり、同年 5 月に日本が議長国を務めた伊勢志摩サミットで議論された国際的な保健課題を更に掘り下げ、G7 各国が協調して政策を進めるための重要な政策対話の場となった。実際には、世界保健機関 (WHO: World Health Organization)、国連人道問題調整事務所 (UNOCHA: United Nations Office for the Coordination of Humanitarian Affairs)、経済協力開発機構 (OECD)、及び世界銀行の代表及び高官に加え、ラオス、ミャンマー、シンガポール及びタイの大臣も参加している。そして、その討議結果は神戸コミュニケとして採択された<sup>6)</sup>。

その骨子は以下の通りである：

- ① 公衆衛生危機に対する国際保健の枠組みの強化
- ② ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ (UHC: Universal Health Coverage) の達成と高齢化を焦点とする生涯を通じた健康の推進

この UHC については、「医療費の高騰に鑑み、エビデンスに基づく透明性のある優先順位付けのための手法、特に医療技術評価 (HTA) を通じた、保健システム強化への投資が、UHC に向けた意思決定のプロセスにおいて重要であることを再確認する。治療や予防の経済的評価は、保健システム内の限りある財源を効率的かつ持続可能な形で配分するのに必要不可欠であり、G7 は、これに関する研究及び情報共有の改善を推奨する。水と衛生 (WASH) における進展が、費用対効果の高い重要な手段の 1 つであるとともに、薬剤耐性の感染拡大を食い止め、予防接種を含む他の感染予防・制御策と相まって、明確な寄与をもたらす、等々」と述べられている。

- ③ 薬剤耐性 (AMR: Antimicrobial Resistance)
- ④ 研究開発 (R&D: Research and Development) とイノベーション

これら 4 つのテーマは、一見、独立しているように受け取られるかもしれない。しかし「経済的評価」「効率的かつ持続可能な」「費用対効果の高い」など、HTA に関わる考え方が各テーマを結ぶ縦糸として存在する。わが国では、2016 年度から中医協の費用対効果評価による新薬価制度の試行的導入が開始されていた事実を考えれば、厚生労働省が HTA への認知を国内に対してだけ示したのではなく、神戸での G7 保健大臣会合を通して世界に発信したと受け取ることができる。

結局、OECD の最終報告書は、企業からのヒアリングを経て 2018 年 11 月末、医薬品のイノベーションとアクセスに関する提言の形で取りまとめられた。

### 3. 日本の現状／強み

わが国は、半世紀以上も前に、アジアでは初めて国民皆保険制度を導入し、国民の高い健康水準を達成・向上してきた。例えば、OECD 統計 2017 によれば、図 2 に示されるように、縦軸に平均寿命、横軸に一人あたりの健康支出を取った平面で、世界有数の位置（図中の JPN）にランクされる。この図に描かれた回帰曲線は、効率的フロンティアに該当し、費用対効果の良否の境界と解釈される。それによれば、わが国は、効率的フロンティアに沿って効率的な医療を実現している。一方、米国（USA）は唯一、回帰曲線から乖離して、支出に対する平均寿命達成の効率がおおむね EF 曲線に沿う諸外国に比べて、著しく悪いことが示唆される。

従って、「支出の効率性を高める取組」に関して、既にわが国は、先進的努力を積み重ねてきた成果を出している。その点は、わが国の諸条件がもつ強みと言えよう。しかし、序説で述べたように、高騰する医療費への懸念から、2019 年度より中医協・費用対効果評価が制度化されたが、G7 メンバー国の中で最も遅い対応となり、改革のスピード感はもとより、今後の HTA 観点からの取組に課題を残している。

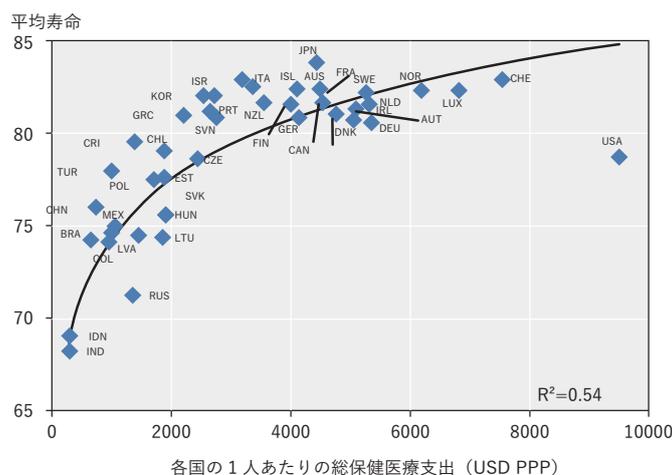


図 2. 各国における平均寿命と総保健医療支出

出典：OECD Health Statistics 2017

### 4. 採用可能な政策オプション

OECD 報告書は、以下の 5 原則に基づいて書かれている：

- ①医薬品に支出することへの価値を高める
- ②異なる開発段階にある各国でのアクセスを保証
- ③ルールに基づくシステムを支持
- ④特許期間中でも期間終了後でも市場における競争を可能にする
- ⑤支払い側、行政、医薬品企業、その他の関係者間での対話やコミュニケーションを促進

この 5 原則をもとに、現状の問題認識への対応策として、5 つの政策オプション（A から E）が提示された（表 1）。「支出の効率性を高める取組」は、オプション B として取り上げられている。B で列挙された 6 項目は何らかの形ですでにわが国で実現されている。

その 6 項目は、効率性の観点から HTA の縦糸で紡いで捉えることができる。B-1 では、直接的に「HTA との連携の促進」が説かれている。中医協での費用対効果評価の 2019 年度からの制度化は、この B-1 に対するわが国の回答とも言えよう。また、B-2 では、既にヨーロッパでの先例であるベルギー、オランダ、ルクセンブルク、オーストリアによる複数の政府が協調して製薬会社との価格交渉に挑む協力体制、BeNeLuxA 契約、のような国際間協同<sup>7)</sup>を背景としている。類似の取組がアジアでも可能なかどうか、日本にとっても課題となる。B-3 は、まさに、薬価再算定の調整方式を制度化した日本のいわゆる新 HTA に他ならない。B-4、B-6 に見られる特許とジェネリックの問題は、すでに種々の薬価ルールが組み込まれているが、HTA の効率概念を明確にしていくのはこれからの課題となる。B-5 は DPC の形で実現されているが、例えば診療群分類包括評価（DPC: Diagnosis Procedure Combination）における薬価決定ルールに、HTA の費用対効果評価を適用するかどうか、これも今後の課題として残されている。

以上のようなオプション B で求められた効率性の問題は、HTA の観点から他のオプションにおいても、多くの項目に直接・間接に連関していることが指摘できる（付録参照）。

OECD 報告とオプション B に関して、タスクフォースメンバーから以下のような論点や課題が指摘された。

表 1. OECD 報告書による 5 つの政策オプション

**A. 研究開発にかかる経費を削減し市場アクセスを早めるために、関係者が協同**

1. 種々の法的規制を調和させて、相互の認知を奨励
2. 潜在的に大きな便益のある医薬品への市場アクセスを早める

**B. 支出の効率性を高める**

1. 医療技術評価（HTA）との連携を促進
2. 協同して価格交渉、契約、および調達を行うことを奨励
3. 臨床実地での医薬品の成果を評価し、保険適用の条件や価格を調整
4. 特許期間中の市場における競争を促進
5. 一定の治療パターン（例えばガン治療）に対する包括払いを検討
6. 特許終了後の市場における競争を促進

**C. 新たな治療法と健康上の便益に対する支払い意思額を決定**

1. 保険適用と価格決定のための明確な基準を定義
2. 財政上の影響が大きい場合、特別な規則を設定
3. マネージド・エントリ契約の最適な活用をはかる

**D. イノベーション促進のために新たなプッシュ型およびプル型インセンティブを開発**

1. 経済的リスクも含む製品開発に的を絞ったプッシュ型のインセンティブを開発
2. アンメット・メディカル・ニーズ（満たされていない医療ニーズ）に向けた研究開発を奨励するために、代替できる複数のプル型インセンティブを探索
3. 希少疾病用医薬品に対する政策を見直し、アンメット・メディカル・ニーズの対象範囲を絞る

**E. より良い政策討議のための情報基盤を強化**

1. 優れた政策決定を行うために、企業活動や研究開発のリスク、費用、利益に関して、政府が出版物を発行
2. 医薬品市場での価格の透明性を高める
3. 見直し調査（horizon scanning）活動を改善し、地域レベルでの協力を推奨

**報告全般について**

- OECD レポートは、妥当な指摘である反面、日本が参考する点は少ない。オプション B の 6 つ項目のうち 4 つは、既に十分取り組まれている。薬価決定では質調整生存年（QALY: Quality-Adjusted Life Year）と費用対効果が新規と認識している。これまで、費用は上手くコントロールされてきたが、もう少し定量性をもたせることが必要。

**価値（Value）について**

- 効率性の議論では、そもそも価値とは何なのかが問われる。日本の医療・社会保障制度は、かつての急性期の疾病ではなく、生活習慣病やがん等、慢性疾患の価値をどう評価するかが問われている。
- そもそも投資に対するリターンは何かを決める必要がある。つまり、Value for money の捉え方を明確にすべき。
- OECD による国際評価において、日本は、乳児死亡率、平均寿命、がん死亡、精神疾患による自殺等、ほとんどの項目で最高の A レベルである。唯一、「自分が健康でない」と国民が感じている点では、日本だけが著しく低いレベルにある。そもそも価値が明確でないと、費用に見合う効果が分からないし、議論も難しい。

このような価値の定義や捉え方の問題に対して、国際医薬経済・アウトカム研究学会（ISPOR: International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research）専門家グループは、12 の要素（価値の花びら）を同定し、拡大費用効果分析（Augmented Cost-Effectiveness Analysis）への取組を勧奨した<sup>8)</sup>。図 3 は、それら 12 要素を示す。すなわち、これまでも指摘されてきた 4 要素：1）質調整生存年の増加（QALYs gained）、2）正味の費用（Net Costs）、3）生産性（Productivity）、4）服薬等の順守の改善因子（Adherence-Improving Factors）、および、新たな 8 要素：1）不確実性の低下（Reduction in Uncertainty）、2）伝染の恐怖（Fear of Contagion）、3）保険上の価値（Insurance Value）、4）疾患の重症度（Severity of Disease）、5）希望の価値（Value of Hope）、6）現実の選択による価値（Real Option-Value）、7）公平性（Equity）、8）科学の普及（Scientific Spillovers）である。

これら 12 要素が提示された目的は、医療における価値認識の視野を広げることと、従来の費用効果分析にもっと多くの価値の要素を組み込む新しい研究を喚起することにある。ISPOR 専門家グループの見解によれば、12 要素の多くは、健康状態の属性に組み込んだり、多基準決定分析（MCDA: Multiple Criteria Decision Analysis）の基準に設定したりする形で価値評価に反映することができるが、「公平性」と「科学の普及」の 2 要素については、もっと理論的な研究やコンセンサス形成が必要とされる。このガイドラインは、わが国での今後の取組の指針となり得る。

## アウトカムについて

- ・米国では、パルスオキシメーター等の最新機器を導入することで医療の安全性が向上した。がん検診は死亡率で評価される。どのようなアウトカムを見るかが重要。
- ・OECD は来日調査の際、医療機関でアウトカムが収集されていないことを指摘されたが、その必要性を認識する。

## 5原則の5番目のコミュニケーションについて

- ・患者のモラルハザード防止や、医療費の支払いの7割は税金から支出しているといったコスト意識の啓発が行えるような「賢明な患者学」の取組において、日本はリーダーシップを取れる。

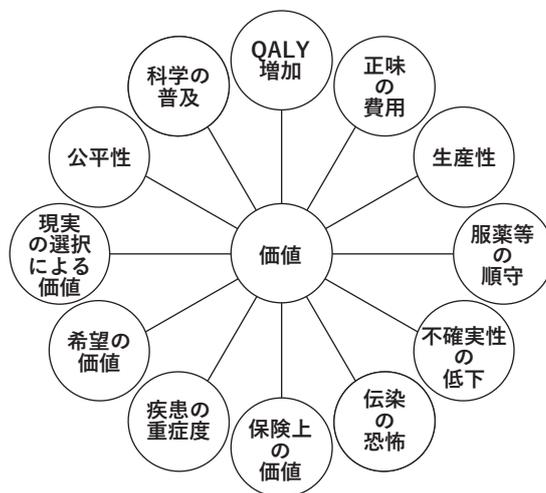


図3. 価値の花びら (評価のための12要素)

出典：STF Final Report, Section 3 by Lakdawalla et al, Value in Health, Feb 2018

## 5. 各政策オプションの財政的なインパクト及び実現可能性についての解説

タスクフォースメンバーにより、財政上のインパクトや実現可能性について、オプションBの個別の項目ごとではなく、以下のような論点に集約される討議が行われた。

### 財源の問題

- ・日本は高齢・少子化が進むなか、これまで財源を集めて来なかった結果、医療費や社会保障費の問題に直面している。OECDに指摘されるまでもなく、その課題に直面して解決した国はまだ存在しない。
- ・効率性の問題において共有できる価値があるならば、その費用を誰がどうやって払うのかの議論が重要。但し、誰がいくら費用を払うのかの問題につながっていくため、「共有できる価値」とは何かについて検討することが重要となる。
- ・技術が発達しても、医療費が削減できるとは限らない。技術への費用負担は、医療費から出さざるを得ないためである。実際に「誰がいくら払うのか」という議論をしない限り、単に学問的な検討に留まる。

### 診療行為の価値評価の問題

- ・図2において、日本の効率がよく見えるのは、人のコストが低く抑えられているためである。そのような視点を医療の質と関連させて評価することが求められる。日本の薬価制度の加算に費用対効果の評価を入れることは理解されるが、その方式を診療報酬全体に拡大するのは難しい。診療行為の価値の議論が不十分。
- ・技術料は海外と比べて安いため、診療側は検査等の出来高で収入を確保する側面がある。診療行為の評価を上げ、医薬品のそれは下方調整するなどのバランスが必要。

### n数（受診数、回数、個数など）の問題

- ・医療費は単価とn数の掛け算で算定される。従って、無駄な検査や無駄な薬剤投与が行われれば、医療費全体が膨らむ結果となる。いわゆる、n数の問題である。医師の診療報酬や個々の薬価は低く抑えられており、無駄な検査が医療費を圧迫する大きな要因。図2では、n数が考慮されていないことに注意が必要。
- ・国際比較すると、日本の薬価や診療報酬の単価は安い、高齢者が多いとn数は増える。それが全体の医療費を押し上げる。高齢化率で支出を調整する観点も必要。必ずしも単価の問題だけではない。
- ・量的な無駄を考える場合、我が国は、検査や投薬等の妥当性を議論する適切な指針がない問題、支払基金も複数医

療機関にまたがると把握しにくいといった重複チェックの問題、そして、それら議論のベースとなり得るデータも揃っていないという問題という三重苦の状態にある。すなわち、

#### 指針の問題：

公的保険上の適切な検査や治療のための指針がないため、無駄な検査等がどの程度の医療費支出になるのかが明確でない。保険の査定で、不要な検査などの無駄を起こさせない外部のチェック機能があるが、必要なものまで保険からの支出が認められない場合がある。指針がないため、それに沿って系統的に診療内容の無駄に切り込むことが難しく、最初に分かりやすい単価の部分が議論されやすい。

#### 重複チェックの問題：

保険の査定では、医療機関が変わるとチェックされない問題がある。投薬についても同様である。支払基金は、個別の医療機関からの請求を審査するが、複数の医療機関での重複検査や重複投与は把握しにくい。

#### データ不足の問題：

上記の指針や重複チェックの問題は、データ管理が効率的に行われることが大前提となる。適正なデータの利用可能性が担保されない限り、問題の解決は見いだせない。無駄な検査は、実質的な効率性に関わる問題である。OECD 提言の政策オプションに「医療技術評価（HTA）との連携を促進」とあるが、HTAにもマイクロレベルとマクロレベルがある。n数、医師の処方、検査のパターン等を含めてしっかり評価するのも重要なHTAの役割である。そのような評価も含めて、データの利用可能性と公的にアクセス可能なデータベースが必須となる。これは、以下の（4）医療情報の組織化の問題の一環でもある。英国NICEの技術評価では、分析モデルの中に医師の処方や検査のパターン等を組み込み、また、財政影響試験ではn数の問題を扱っている。

また、n数問題の質的側面も論点として見過ごせない。すなわち、

- ・臨床現場では「やむを得ない非効率」（若い医師による広範囲の検査等）と「意図的な非効率」（本来不要な内視鏡検査等）の2種類がある。その差異は重要な視点。両者を区別するシステム作りが必要。
- ・何をもって無駄とするかの範囲が重要。重複の検査や投与等、明らかに無駄なものだけの指摘では不十分。

#### 医療情報の組織化の問題

情報の組織化とそのために必要な投資によって、効率性の問題を解決できる可能性がある。その点で以下のような意見があった。

- ・海外では、患者のX線画像はクラウドに保存されてアクセスされる事例がある。そのようなシステムによる効率化が必要。
- ・データヘルスが重要。医療情報の組織化に関して、国民の啓発、教育も重要。そのような視点をもがん教育にも盛り込むことが望まれる。
- ・複数の医療機関での重複検査等、いわゆるn数問題は、医療情報の組織化によって解決することが可能。塩崎元厚労働相の時、AI導入が企画された。全国の社保・国保、支払基金の基準差は解消されるはずであるが、反面、そのインフラ投資に数千億円が必要。さらに、運営コストを賄うビジネスモデルをどうするかも課題。
- ・情報の組織化は、ただ投資があればできるわけではない。誰もがわかっているのにできないとか、システム化のニーズの高さが必ずしも優先度に基づいての投資の動きにつながらないのは、技術的よりも政治的な問題の色彩が強い。そのような問題に、今後、切り込む必要がある。

#### 負の投資の問題

- ・これまで負債の部分は経済成長の伸びで補っていたが、少子高齢化社会では持続的な経済成長モデルの維持が難しい。医療のコスト縮減は、経済の悪化につながる懸念がある。そのため、イノベーションで効率化をはかる新ビジネスモデルが必要。
- ・支払い側、医療提供側、患者側が互いの無駄を言い合っても生産的でない。そこに勝者はなく、誰がどれだけ負債を背負うかが問題。その前提を共有できれば、これまでとは違う議論が出来る。

#### コンプライアンスやコスト意識の問題

- ・効率性の議論には、患者の服薬コンプライアンスといった観点も必要。
- ・1日1回服用で済む薬の開発や、処方の工夫でコンプライアンス改善をはかる。
- ・学会は、医師向けに、価格を意識した投薬ガイドラインの作成に取り組むべき。
- ・効率性の観点からは、患者のモラルハザード、例えば「薬をたくさんくれる、検査をいろいろしてくれる先生は良い先生」が問題。
- ・自己負担は3割で、残り7割は税金からの支出であるといった啓発が必要。
- ・高齢化によって複数の薬の処方が通例化している。効率的でない処方を拒否していく患者文化が形成される必要がある。そのためには、患者にとって処方の価値が分かり、医師にとっては効率的でない処方がある教育・啓発が必要。

- ・効率性という観点で、患者がやるべきことを明確にすべき。
- ・患者は、自分のニーズを知り、医療の価値も知る「上手な医療のかかり方」を学ぶべき。医療関係者には、そのような情報発信を企画することが望まれる。
- ・保険者は、検査や投薬についての啓発に取り組むべき。それが患者や家族の生活向上につながることを説く。
- ・医療での適切な効率化をはかるには、情報社会でのコンピュータリテラシー同様に、高齢化社会における HTA リテラシーの普及が望まれる。

## 6. 今後の取組への提言

OECD の医薬品のイノベーションとアクセスに関する最終報告書を、HTA の文脈でとらえれば、提言された政策オプションが別々のものではなく、HTA の縦糸で互いに結ばれていることが浮かび上がる。つまり、医療技術のイノベーションとアクセスの問題は、HTA と表裏一体である。

一方、提言された政策オプションは、HTA の文脈を除いて、これまで中医協や審議会で議論されてきた内容が多い。前節までのタスクフォースメンバーの討議・コメントに示されるように、日本では一定程度すでに実現されているか、または実現できるような内容が多い。

従って、逆にこの OECD の政策オプションをテンプレートにして、日本が自国のこれまでのルールや新 HTA に関する情報発信を世界に向かって行えば、「日本の制度にもっと学べ」の声が世界から得られるかもしれない。

但しそのためには、OECD 提言が具体的なシステムをイメージしながらも概念や政策のビジョンを重視している点に学び、そのような観点から、日本の医療システムに関する情報発信を行うことが望まれる。そのヒントとして、以下のようなタスクフォースメンバーからの指摘がある：

- ・国を問わず、医療技術評価でコストをコントロールできた例はこれまでにない。現在のコストが本当に過大なのかを精査する必要がある。日本は、世界で最も高齢化率が高い国である。中負担・低福祉にしかならない未来像でいいのかを問えば、ここまでは必要という枠が分かってくる。そこで無駄を省き、どの程度足す必要があるのか、財源をどれだけ増やすべきかというビジョンが見えてくるはずである。2012 年の厚生労働白書は、初めてその試算を行い、1.7 兆円足せば、あとはやりくりで全体のニーズに合うという指針を出している。しかし、現実の政策対応は遅れ、財源としての消費税アップもようやく 10% に到達したところである。
- ・厚生労働省と経済産業省が一緒に進めているヘルスケアのチームは、2040 年に向けた技術に関する検討会を行っている。そこで、本タスクフォースでも、給付と負担のなかで、国民が痛みをどこまで受け入れるのか、あるいは、どのようなサービスが国民皆保険で給付されるべきかといったことに踏み込む論点整理ができれば、報告書がプラスの価値を生み出せるのではないか。

以上のような指摘は、国民皆保険システムの給付対象、給付サービスの範囲、および費用負担といった観点から再検証することが喫緊の課題であることを示唆すると考えられる。しかも、OECD 提言から学べるように、HTA との連関を明確にすることが鍵になる。わが国の国民皆保険は、国際用語としては UHC に該当する。国際保健では、UHC の給付対象、給付サービスの範囲、および費用負担の 3 要素は、「UHC の直方体」として知られている（図 4）。そこで、本報告では、第 1 の提言として：

### ①日本の皆保険について、UHC 直方体を構成する 3 つの次元の相互関係を、HTA の理論と政策理念の両面から再検証し、支払い可能性 (Affordability) を担保できる皆保険制度を具現化せよ

ちなみに、2019 年度から制度化された中医協による費用対効果評価は、UHC の直方体で言えば、給付サービスの範囲と費用負担の 2 次元で個別の医薬品の価値を評価する新たな制度ということができる。その点、中医協の新薬価制度は、上記の提言①に向けての第 1 歩と言える。しかし、個別の医薬品の評価に終わることなく、今後、未来を見据えて皆保険システム全体に拡大した体系的アプローチが求められる。そのような体系化を前提として、財政的に持続可能なシステムの実現が視野に入ってくる。

そこで、第 2 の提言として；

### ②単一技術の効率性の評価だけでなく、国民皆保険の全体を HTA で規律化して、そのシステムの効率を高め、正負の投資のバランスを取ることによって持続可能とする (Sustainable) 新循環型投資システムを構築せよ (図 5)

これまで、循環型の投資の考え方は、正の投資としての薬価加算や、負のそれとしての診療報酬マイナス改定といった形の制度として実現されてきた。しかし、ここで言う新循環型投資システムは、正の投資による費用増加部分に、価値の評価による規律性を導入する（例えば、2019 年度よりの中医協による新 HTA 制度化はまさにそれ）と同時に、負の投資部分に、これまでの診療報酬改定だけでなく、HTA を活用したさまざまな方策（例えば、差別価格設定 (Value-based Differential Pricing) など）を組み込む。

結局、HTA が、UHC 直方体と新循環型投資システムを連関させる鍵の役目を果たすため、HTA リテラシーを習得したエキスパート養成が今後の取組の成否を分ける喫緊の課題となる。

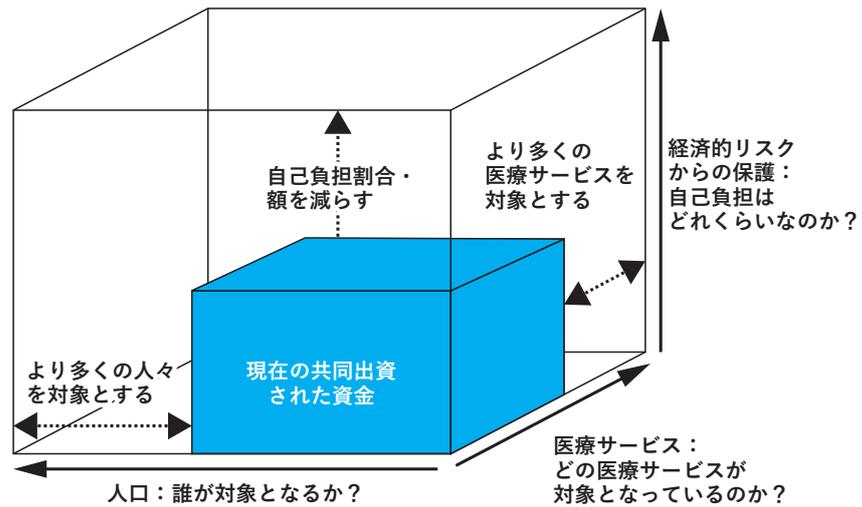


図4. UHC 達成に向けた3つの軸

出典：Health Systems Financing, The path to universal coverage, WHO

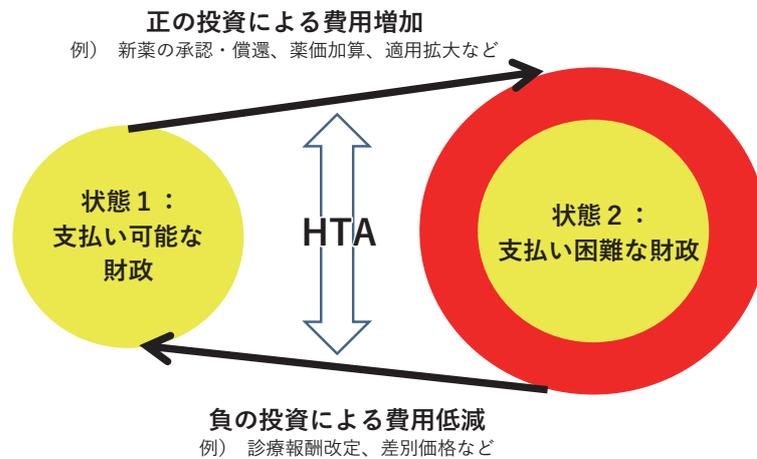


図5. 新循環型投資システム

(出典) 鎌江：厚生労働省新 HTA 制度 第4回 持続可能な保険制度を実現できるか  
 <医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス Vol.48, No.9, p.588-593(2017) >

## 付録< HTAの縦糸に関する見解 – B以外の他の政策オプションについて >

鎌江伊三夫、厚生労働省新 HTA 制度 第9回 OECD 提言から見た制度化後の課題、医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス 2019年12月号よりの抜粋：

オプション C は、支払い意思額 (WTP: Willingness to Pay) の決定と関連する問題を取り上げている。C-1 では「保険適用と価格決定のための明確な基準を定義する」されるが、これに対し日本は ICER (増分費用対効果比) に基づく価格決定という回答を出した。OECD 報告書の見解によれば、基準には費用対効果だけでなく財政インパクトや平等 (equity) への配慮を含むことができる。一般に、重篤な、あるいは稀な疾患ほど WTP は高くなるため、この政策オプションでは興味深いことに、Value-based WTP の導入を提起している。これは、疾患別の WTP を認めることになるため、それを定義する場合は、同額の投資を他の疾患に行えばどれだけの健康便益が得られるかを比較する必要があるとされる。

この OECD 報告では、WHO の適正価格フォーラム<sup>9)</sup>で表明・支持されたような、価値に基づく価格決定 (Value-based pricing) への明確な反対は述べられていない。WHO が主として低所得国を見ているのに対して、OECD は中・高所得国における医療技術のイノベーション促進を前提としているため、両者の温度差を生じていると考えられる。

C-2 については、日本では従来から市場拡大再算定のようなルール化が行われている。ただし、オプジーボの再算定問題に見られたように、従来の再算定ルールに加えて、費用対効果評価による再算定を合わせたアプローチが日本の方式である。一般に、高額医薬品に対しては、対象集団をできるだけ小さく設定して財政インパクトを小さくするのが原則である。しかし、適用外使用や適用拡大の可能性のために、期待される費用の適正化が実現できない場合もあることに注意すべきである。また、地球規模での感染症の蔓延など、パンデミックにより患者集団の大きさに急激な拡大が起これば、たとえ ICER では費用対効果が優れる医薬品でも財政インパクト上は大きな脅威となることを覚悟しなければならない。さらに、C-3 で指摘されたマネージド・エントリ契約は、日本では未だ適切に整備されておらず、これまでの新 HTA の議論の中でもテーマとして取り上げられていない。見直し調査から始めて、上市後の予測されるリアルワールドでの費用対効果まで関係してくる問題だけに、今後の取組が望まれる。

オプション D では、イノベーション促進の方策が提言されているが、まずは、イノベーションの定義を明確にする必要がある。例えば、医師にとってのイノベーションは医学的効果の改善であるが、社会的視点では費用対効果の改善が求められる。D-1 に関しては、これまでも政府による研究助成や公私連携 (パブリック・プライベート・パートナーシップ; PPP) など、さまざまな取組が行われている。D-2 は、これからの HTA での課題を含む。OECD は神戸コミュニケで取り上げられた AMR に言及しているが、わが国でも AMR 対策として、「小児抗菌薬適正使用支援加算」が設定された。これは HTA の観点からすれば、診療報酬本体部分の価値評価 (少なくとも費用対効果) に関わる問題である<sup>10)</sup>。また、これまであまり考慮されていないプル型インセンティブとしての市場導入報奨金 (market entry rewards) が提案されており、費用対効果評価に関わるだけにこれからの課題となる。

オプション E-1 でいう政府の出版物に関しては、一般にわが国ではかなり成果を上げている。HTA の観点からも、中医協による費用対効果評価の分析ガイドラインが、制度化に合わせて第2版に改訂された<sup>11)</sup>。E-2 で提言された医薬品市場での価格の透明性は、企業にとっては困難な課題であろうが、薬価決定に原価計算方式を取る日本のルールでは、HTA の観点からの原価計算方式の改善に取り組むべきであろう。E-3 で提起された見直し調査 (horizon scanning) は、従来、日本の臨床試験中心の研究開発では十分に認知されてこなかった。しかし、HTA では、臨床研究前から上市後の臨床実践まで見通した製品の価値評価が重要視される。その点でも、HTA リテラシーの普及が必要である。日本が得意分野であったはずの IT の医療への応用は欧米先進諸国より遅れている。特に、データベースの整備・利用が遅れている。OECD2017年のヘルデータに関する報告によれば、電子健康記録 (EHR) システムの開発状況を、データガバナンスの即応性と技術・操作の即応性の2次元平面で国際比較した場合、日本は30カ国中、最下位であることが示されている<sup>12)</sup>。明らかに、情報基盤の整備は喫緊の課題である。

## 参考文献

- 1) 鎌江伊三夫, 城山英明, 林良造監修: 医療技術の経済評価と公共政策－海外の事例と日本の針路, じほう, 2013.4.
- 2) 鎌江伊三夫: 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, 2016.6.
- 3) 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19回): 第19回合同部会資料【会議資料全体版】. 平成31年3月27日 <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000494007.pdf> [最新アクセス 2020年4月17日]
- 4) OECD (2018). Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines, OECD Health Policy Studies, OECD Publishing, Paris, September 29, 2018:  
<http://www.oecd.org/health/pharmaceutical-innovation-and-access-to-medicines-9789264307391-en.htm> [最新アクセス 2020年4月17日]
- 5) G7 神戸保健大臣会合. 2016年9月11-12日  
<https://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kokusai/g7kobe/>  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 6) 神戸コミュニケ. G7 神戸保健大臣会合, 2016年9月11-12日  
[https://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kokusai/g7kobe/KobeCommunique\\_ja.pdf](https://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kokusai/g7kobe/KobeCommunique_ja.pdf)  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 7) Beneluxa Initiative on Pharmaceutical Policy.  
<http://www.beneluxa.org/>  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 8) Lakdawalla DN, Doshi JA, Garrison LP, Phelps CE, Basu A, Danzon PM: Defining Elements of Value in Health Care—A Health Economics Approach: An ISPOR Special Task Force Report [3]. *Value in Health* 21(2):131-139, February 2018.  
[https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(17\)33892-5/pdf](https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(17)33892-5/pdf)  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 9) WHO Fair Pricing Forum. 2017 Meeting Report, 11 May 2017  
[https://www.who.int/medicines/access/fair\\_pricing/FairPricingForum2017MeetingReport.pdf?ua=1](https://www.who.int/medicines/access/fair_pricing/FairPricingForum2017MeetingReport.pdf?ua=1)  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 10) 鎌江伊三夫. 朝令暮改に陥った「妊婦加算」－問われる診療報酬改定の論拠と妥当性. キヤノングローバル戦略研究所コラム, 2018年12月21日  
[https://www.canon-igs.org/column/macroeconomics/20181221\\_5441.html](https://www.canon-igs.org/column/macroeconomics/20181221_5441.html)  
[最新アクセス 2020年4月17日]
- 11) 中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン第2版. [https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline\\_ja.pdf](https://c2h.niph.go.jp/tools/guideline/guideline_ja.pdf) [最新アクセス 2020年4月17日]
- 12) OECD (2017). RECOMMENDATION ON HEALTH DATA GOVERNANCE, 10 countries are ready to analyse clinical data for health care quality monitoring, 17 January 2017. <http://www.oecd.org/health/health-systems/Presentation-Health-Data-Governance-Recommendation.pdf> [最新アクセス 2020年4月17日]

## 第2章 社会保障における給付と負担の問題

### —レギュラトリーサイエンス（RS）の視点による効果的な研究開発と市場アクセスの改善の取組—



早稲田大学理工学術院 教授  
梅津 光生

1979年早稲田大学院博士課程修了、国立循環器病センター研究所初代研究員。1988年シドニー・セントビンセント病院工学部長（初代オーストラリア人工心臓プロジェクトリーダー）。1992年早稲田大学教授（理工学部・機械工学科、現、理工学術院・総合機械工学科）現在に至る。その間、2001年大学院生命理工学専攻初代主任。2008年早稲田大学先端生命医科学センター（TWIns）長。2010年東京女子医大一早大共同大学院 共同先端生命医科学専攻・初代専攻長。2015年早稲田大学重点領域研究：「医療レギュラトリーサイエンス研究所」初代研究所長を務めている。学位は工学博士（早稲田大学）、医学博士（東京女子医科大学）。研究、専門テーマは医用機械工学、人工臓器、レギュラトリーサイエンス。日本人工臓器学会副理事長、日本レギュラトリーサイエンス学会理事、厚生労働省 薬事・食品衛生審議会 医療機器・体外診断薬部会 委員、日本医療研究開発機構 戦略的イノベーション創出推進プログラム評価委員などを務めている。

### 1. 序説

本章では、本タスクフォースでの議論をもとに、少子高齢化・人口減少社会における社会保障制度の給付と負担のあるべき姿について、効果的な研究開発と市場アクセスの改善という観点から考察する。

なお本稿において、医療レギュラトリーサイエンス（RS）という用語は、2015年の早稲田大学医療レギュラトリーサイエンス研究所による「医療にかかわる科学技術が、人・社会へ真の利益をもたらすために、科学技術による人工物（モノ、システム）について評価・予測・意思決定を行う科学」を参照されたい。<sup>1</sup>

研究開発の効率化や市場アクセス改善のための具体策について述べる前に、以下の第2節で、研究開発の背景と課題、第3節では我が国の医薬品と医療機器産業の現状を整理する。その後第4節にて、課題解決のための政策オプションを提案し、終わりに第5節では、提案する政策オプションのインパクトと実現可能性について考察する。

### 2. 研究開発の背景と課題

ここでは、まず医薬品と医療機器の違いについて概説し、医療機器に重点を置いて研究開発の課題をまとめる。次に、研究開発の課題の背景について、費用、効率性、市場アクセスの3つの観点から整理する。

#### 医薬品と医療機器の違い

2014年秋に医薬品医療機器等法の制定によって、従来、「医薬品等」という位置づけであった医療機器が独立して、「医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性の確保に関する法律」によって規制されるように改正された。これにより、医薬品と同様に医療機器も品質・有効性・安全性を独自の方法で明確化することを定められた。

医療機器医薬品の類似点、相違点は、元厚生労働省の俵木登美子氏が複数項目によりまとめられており、以下、それをベースに説明する。<sup>2</sup>医療機器は機械工学、電気工学、放射線化学、薬学、材料工学等がベースとなる工業製品であり、基本的には生体と反応することはほとんどない。これに対し医薬品は薬学をベースとする化学物質であり、生体と反応することで効果を発揮する。それに伴い、医療機器は現場ニーズからデザインされるものに対し、医薬品は探索的に見つけてゆくもの、という大きな違いがある。

その効能の評価に関して、医薬品には歴史があり、一定の評価手法が確立されている。これに対して、医療機器では個別にリスクアセスメント手法を用いて対応することが要求されている。具体的な医療機器の評価手法には、臨床研究法のもとに行われる手法と薬事法のもとで行われる手法の2つの大きく異なるアプローチが考えられる。前者は試作品を早く患者の治療に届けることが可能である。一方、後者では探索的治験・検証的治験を経て承認に至り、一般的に長期間を要する。その承認期間の短縮法は行政によって検討され、条件付き早期承認に関して法整備がされている。その詳細は、政策オプションの提案の中のオプション2のところで説明する。

以上述べてきたように、医薬品と医療機器では多くの共通事項があると同時に、多くの違いがあり、医療レギュラト

リーサイエンスの観点からも、別々に議論をした方が良く考えている。以下では、費用、効率性、市場アクセスの観点から、医療機器における研究開発の課題を整理する。

### 費用

医療機器の研究開発に関する費用面での2つの問題点を、医薬品医療機器総合機構（PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）の高橋彩来氏の医療機器企業からのインタビュー<sup>3</sup>をもとに整理する。

- ① 治験にかかるコストは、他のフェーズ（非臨床、市販後等）に比べて桁違いに大きく、モニタリング等を外注するとトータルの費用は莫大となる。
- ② 治験をするならなるべく短期間での実施が必要であり、最近では学会が患者登録に協力してくれるようになった事例もある。

### 効率性

研究開発の効率性に関して述べるには、イノベーションのプロセスについて考える必要がある。厚生労働省の迫井審議官によれば<sup>4</sup>、イノベーションは、下記の3段階に分類される。

- ① 既存の技術を上回る新技術の探求の段階
- ② 不完全な途上技術を実用化に向けて、専門家による質の担保を行う段階
- ③ 完成させた技術を事業化等によって一般に使用できる環境を作る段階

この②の段階では、治療・診断の専門職による治療・診断の仮説の設定とその検証に多くの時間と労力が必要となる。医薬品には、臨床試験の中でその方法論が確立されている一方、医療機器では、臨床試験の必要性の検討から始めることとなり、臨床試験の目的と臨床試験の設計を決定することが求められる。

そこでの実臨床にかかる人件費、時間を減らすために、従来の延長ではない、新しいアプローチによる評価系を創出し、それを実行しうるような人材が必要となる。RS人材の育成については、第4節のオプション3にて詳細に説明する。

### 市場アクセス

最後に、研究開発に関する政策において重要な視点である市場アクセスについて整理する。ここでは、医療機器に限定した内容となるが、市販前、市販後のそれぞれに対して、市場アクセスを高めるための早期の承認とそれを担保する市販後の安全対策についてまとめる。

市販前の取組では、PMDAが2017年から開始しているRSに基づいたRS戦略相談があげられる。まず、RS総合相談またはRS戦略相談の事前面談にて相談内容や論点の整理を行い、次に企業が作成した市販後リスク管理の計画をもとに、臨床試験の要否及び内容の詳細決定のための対面助言を行っている。ケースによっては、治験不要例もあり、一部変更承認を迅速に行うケースもある。

市販前に安全が評価できない場合は、市販後の安全対策を徹底的に図る必要がある。特に医療機器の場合には、市販前に評価できることには限界があるので、市販後の安全対策により、安全性の確保を図ることが重要である。高度医療機器においては、承認の際の付帯条件として、以下の項目を課することが多い。

- ① 適切なトレーニングの実施
- ② 施設の限定、段階的拡大
- ③ 実施施設、実施石についての基準の策定
- ④ 学会等と連携したレジストリの構築
- ⑤ 適切な情報収集・情報伝達の体制
- ⑥ 市販後のリスク情報の迅速な提供

市販後を含めたこのような安全性・有効性の確保のための取組は、厚生労働省、PMDAという規制当局が一体となって統括している。

## 3. 日本の医薬品・医療機器産業の現状

医薬品及び医療機器の規制政策について理解することが重要であるのに加え、その政策が規定するマーケットを理解することも重要な点である。次節で政策オプションを提案するにあたり、本節では現在の日本の医薬品、医療機器のマーケットについて解説する。

### 医療機器産業の現状と課題

図1に医療機器の貿易収支の推移について示す通り、貿易赤字は年々拡大する方向にある。2016年の医療機器における輸出入差額（＝貿易収支）は、約9,724億円の輸入超過となっている。

我国の医療機器製品は様々な分野にわたっており、大企業と中小企業が混在している。一般的な傾向としては、人体への侵襲性の高い技術など高度な技術（人工臓器、ロボット、高解像度の画像など）や医工連携を活用した最先端技術が必要な分野が目立つ。また、製品開発後の適正使用やメンテナンスなど医療現場との連携が不可欠となっている。こ

これらの現状の問題に対し、医療機器基本計画やオールジャパンの医療機器開発プロジェクトが策定されている。医療分野の研究開発や人材育成等の基盤整備を進めるとともに、日本の医療技術等の国際展開を後押ししている。

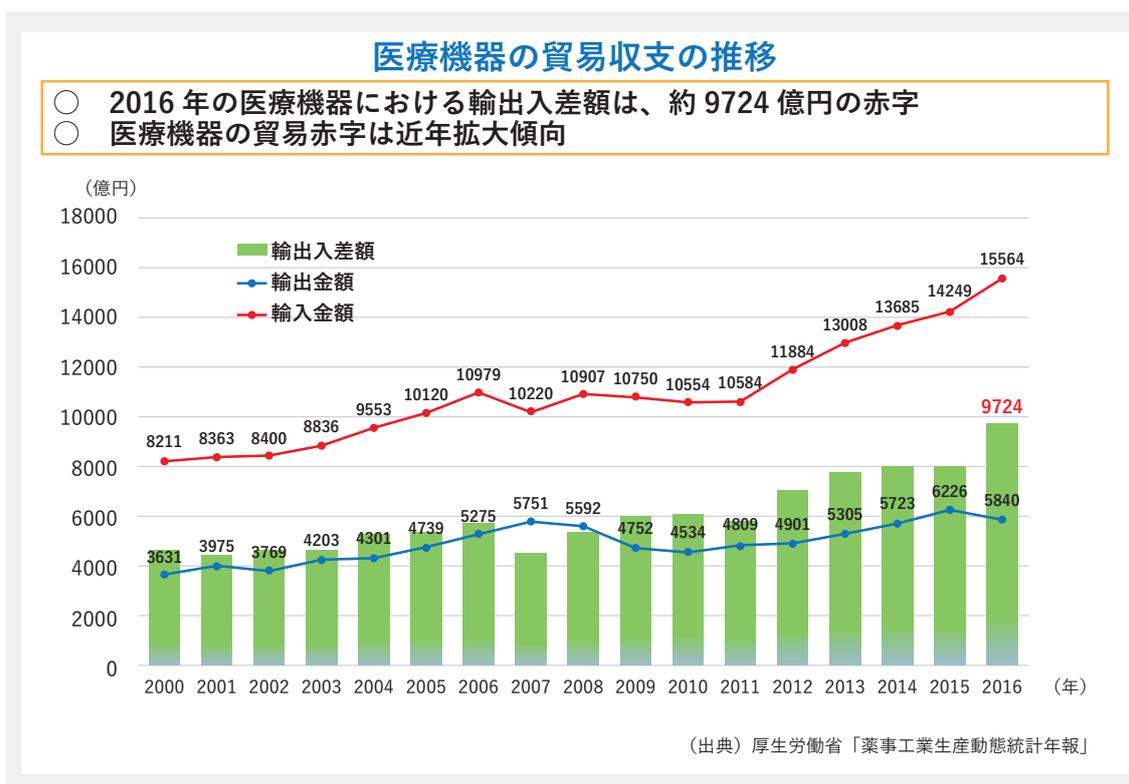


図1 医療機器の貿易収支の推移

## 医薬品産業の現状

医薬品に関しても現状を概説する。世界中、医薬品開発の費用は高騰している。日本の製薬企業の規模が小さく、多くの大手製薬企業が長期収載品に収益を依存しており転換が急務であることなどが課題であると考えられる。また、基礎的医薬品は、度重なる薬価改定で一部について採算が悪化しており、安定供給策が必要である。後発医薬品市場は、経営規模が小さい企業が多数存在し、体質強化が課題となっている。

医薬品の研究開発では一般に10年以上の期間が必要であるが、成功確率は年々低下し、10年前は1/13,000であったものが現在は1/25,000となっており、難易度が上昇している。それに伴い、1社当たりの研究開発費も621億円(2004年)から1,414億円(2017年)と上昇の一致をたどっている。したがって、新薬の上市に必要な開発費(海外)では約1,700億円(2014年)にもものぼる。

これに対して、日本発のシーズが生まれる研究開発環境の改善を目指して、日本創薬力強化プラン(緊急政策パッケージ)や薬事規制改革等を通じてコスト低減と効率性向上をサポートする取組が行われている。これにより、医薬品の生産性向上(バイオシミラーを含む)と製造インフラの整備が進み、適正な評価の環境が整えられている。このことは、日本発医薬品の国際展開の推進や創薬業界の新陳代謝を促すグローバルなベンチャーの創出、医療用医薬品の流通改善への一層の対応の促進に寄与している。

これらの現状を踏まえ、RSの観点から考えられる政策オプションの具体的提案を次節で説明する。

## 4. 採用可能な政策オプション

本節では、これまで述べてきた課題に対してさらなる研究開発の効率化と市場アクセスの改善のために考えられる主な実現可能な政策オプションを提案する。

### 政策オプションの提案

OECDは2018年に「研究開発にかかる経費を効率的に管理するとともに、市場アクセスを改善する取組」について提言している。そこには以下の2つのオプションとその要約が示されている。これをもとに日本語訳した形で本稿におけるオプションとして説明し、さらに将来の展開についても考察する。

### オプション1：『規制基準を調和させ、相互承認を促進する』

まず、我が国の医療機器産業の国際化を視野に入れた取組の提案の前提として、高度管理医療機器クラスIVの開発をやらない限り、世界と競争できないと考えられる。

OECDによれば、規制当局間の協力によって患者のアクセスがさらに加速され、研究開発の後期段階のコストが削減される可能性がある。そのような協力は、評価された製品に関する情報の交換または科学的な証拠（エビデンス）要件の調和、意思決定を知らせる他の機関による評価への依存に及ぶ可能性がある。技術立国日本としての高性能医療機器を開発するミッションを遂行するには、国際標準化にコミットしなければ国際競争ができないことを常に意識することが重要であると考えられる。

各国の医療機器規制の国際整合性について議論している世界保健機関（WHO: World Health Organization）の医療機器規制国際整合化会議（GHTF: Global Harmonization Task Force）で策定されたガイダンスは、各国が自主的に規制に取り組む努力をしている。GHTFのガイダンスは、医療機器の基本要件、クラス分類、添付資料概要（STED: Summary Technical Documentation）等を含み、その多くは我が国の規制にも取り入れられている。さらに、2011年2月に立案された国際医療機器規制当局フォーラム（IMDRF: International Medical Device Regulators Forum）は、GHTFにおける強固な基盤策案を土台として、国際的な医療機器規制の整合化と収束を促進する。日本がこのグループで活動することは、医療機器の国際標準化を図る上で重要である。

審査ラグはおおよそ解消したが、我が国で治療法のない患者へ革新的医療技術をいかに早く届けるかという大きな課題に対して、医療産業育成の立場から、さらに次のような5項目の取組が進められている。

- ① 規制当局、アカデミア、産業界の連携による、開発促進のための規制の明確化を促進する評価指標、ガイドラインの作成を推進。また、PMDAに設置した科学委員会において Point-to Consider を策定。
- ② 開発早期からの開発戦略の明確化。RS 戦略相談、開発連携相談等の活用ができるよう、PMDAにその部署を設置。
- ③ 市販前・市販後のトータル評価手法の検討。
- ④ リアルワールドデータの活用し、レジストリの構築に有効に活用。
- ⑤ 適正使用に関して関係学会との連携強化。

2019年末、医薬品医療機器等法の改正により先駆け審査制度の法制化が決まり、国際的に新しい革新的な医薬品等を「先駆的医薬品等」として、優先審査する環境が整備された。さらに、小児や希少疾病用の医薬品等を対象に、「特定用途医薬品等」として、優先審査や試験研究促進のための税制上の優遇措置を設けている。

これまでの先駆け審査指定制度の実績は医薬品5種類、再生医療等製品1種、医療機器1種類、体外診断用医薬品1種類である。医薬品では、通常の半分の6か月間で承認できたものが大半である。これは、革新的医薬品医療機器の早期実用化を促進するための取組の好事例といえる。それに加えて、再審査期間の延長を8年から最長10年までの範囲で設定して製造販売後の安全対策を充実させることも行われ、国民の理解が得やすい提案であると考えられる。

### オプション2：『潜在的なメリットが大きい医薬品等の市場アクセスを加速する』

加速化された適応承認の手続きは、満たされていない医療ニーズに対応した治療へのより迅速なアクセスを提供するだけでなく、製造販売承認前に科学的な証拠（エビデンス）を作成するコストを削減する可能性もある。

ただし、一部のエビデンス要件を市販後承認に移行すると、新しい治療法の安全性と有効性に関する不確実性は高まり、治療を早期に受ける患者における潜在的なリスクは大きくなる。潜在的な最大の利益を約束し得る医薬品のプロファイル、市販後のエビデンス要件を順守するための厳格な規則、及び治療のリスクと利益に関する不確実性を適切に伝える情報提供体制を組み合わせることにより、高度な医学的な選択に基づく使用を許容する場合は、加速的かつ適応的な承認審査プロセスが求められる。

医療機器では、一定数の臨床データの集積が難しい場合、臨床データを収集しながら学会と連動した製造販売後のリスクの管理を検討する。そのための計画書を付加して承認審査を行い、承認および製造販売後のリスク管理措置や適応拡大などの一部変更承認申請を行うというフレキシブルな法制度が2019年12月に施行された。

条件付き早期承認制度においては、医薬品よりも医療機器において有用な制度であると考えられる。その理由として、医療機器においては、有効かつ安全である条件を少数の患者に適用して探索的に調べることが、有用な場合があることが挙げられる。2018年11月に新設された条件付き早期承認品目該当性相談は、承認申請の手続きを迅速に進めると同時に、販売後の性能評価の手法も含んでいる。早期に市場アクセスを高めながら、リスクを予測軽減するための管理について言及しており、産官学が一体となって新しい治療を推進する意味で大変意義のある法制化であると評価できる。

さらに、市場アクセスに関しては、ディスプレイの医療機器の場合のように、償還価格（医療材料費）がとれるかどうかで市場でのアクセシビリティは大きく差がつく。しかし、医薬品と違い算定方法も確立していないために、ディスプレイの医療機器の場合は、薬事承認に加えデバイス自体の償還価格をどう決めてゆくかの議論は並行して行うべきであろう。特に、新規医療技術をどう評価して加算価格を決めてゆくかも、産官学一体となって進めることが必要であろう。

### オプション3：『RS人材の育成：オプション1, 2の実現のために、産官学の実質的な連携を強化する』

上記の政策オプションを実現するための我国独特のRS文化を理解するアカデミア人材が乏しいので、それを増やすことは急務である。医療機器開発における我が国の特殊性として、次の5つの項目が挙げられる。

- ① シーズはあるが育てる環境がない。
- ② シーズ/ニーズの結びつきが未だ弱い（医工連携が控えめ）。
- ③ 失敗を許さない文化がある（診断機器のほうがイメージ良、安全）。
- ④ 薬事を理解するアカデミア（特に工学）は極端に少ない。
- ⑤ 医療機器開発のコンサルタントはほとんどいない。

以上のような特殊性を考えて育成されたRS専門人材を臨床中核拠点病院に配置し、我が国の先進医療受け入れ環境を整備する必要がある。

従来大学における自然科学系の学術的な研究成果は、そのままでは臨床には応用できないため、レギュレーションのプロセスの理解が必須である。そのため医工学などの自然科学系だけでなく学際的な教育が必要と考え、早稲田大学医療レギュラトリーサイエンス研究所では、医療レギュラトリーサイエンス(RS)を、従来の規制当局による規制科学・調整科学という捉え方ではなく、評価科学、予測科学、そして意思決定科学(決断科学)という3つの科学によって構成される学問体系と捉えている。また、イノベーションとレギュレーションの関係は必ずしもアクセルとブレーキの関係ではなく、イノベーションが確実に有効に進めるような最適制御条件を探索・設定することがレギュレーションの役割と考えた環境整備に取り組んでいる。さらなるイノベーションの推進と市場アクセスの向上のためには、これらを理解した人材を養成することが重要である。

## 5. おわりに

本章を終わるにあたり、効果的な研究開発と市場アクセスの改善の取組に関して、筆者の経験から最も効果的と思われる政策オプションを、迅速な承認と市場への提供、その他の政策オプション、それらの実現のための人材育成の3つの視点から説明する。

### RSに基づく医療機器の迅速な承認と市場への提供

早稲田大学医療レギュラトリーサイエンス研究所では、独自に開発を進めてきた「非臨床評価手法」をベースに補助人工心臓(EVAHEART)の一部変更による機器改良とそれに伴う臨床応用を迅速に推進し、臨床試験の数を増やさなくても先端的な技術が患者の治療に使える実施例を示してきた。表1に、同研究所が開発した新たな試験評価方法が厚生労働省の通知によって、日本産業企画(JIS: Japanese Industrial Standards)の制定や国際標準化機構(ISO: International Organization for Standardization)による規格の改訂につながった事例を示したものである。そこでは、例えば、冠動脈や大動脈のステント、あるいは生体吸収性のステントの耐久試験などの独自の評価方法を提唱している。このようなクラスIVの先進的な医療機器の開発および早期の承認に資する評価手法の確立および国際標準化は、研究開発の効率化さらには市場アクセスの改善に大きく貢献できるであろう。このようにオプション1で述べたような規制基準の調和や相互承認の促進が極めてやりやすい環境を作ることにつながる。

また、この新しい評価手法は研究開発の経費を効率的に管理する試みにつながると考えられる。従来は、臨床治験にかかるコストは極めて高く、そこに要する時間も長い。RSに基づく医工学的な非臨床評価手法の導入が制度化されれば、市場へのアクセスが改善され、医療イノベーションの実用化のプロセスが明確に示される。これは日本発信の新たな国際標準に向けた提案となる可能性もある。なお、このアプローチは、医薬品にも同様の状況があり、臨床研究開発コストの削減、効率性の向上、及び市場アクセスへの改良につながっている。

ここで医薬品のRSに基づく迅速な承認がどのような形で実現可能であるかについても触れておく。昨今、パッチ等を利用してヒトの細胞で有用性・安全性を確認できるようになっている。また、同じ機序のがんであれば、臓器が異なっても一つの試験で評価可能となっている。アメリカ食品医薬品局(FDA: Food and Drug Administration)はそういった試験を認め、機序別で薬剤を認可するようになってきた。しかし日本では、適応拡大に伴う部分の価格を認めてもらえない可能性がある。機器と同様に、新たなメカニズムで評価できたり、臨床試験を外挿できたりする場合は、既存のやり方にとらわれずに先端的なやり方で開発することで期間も短縮できる。また日本では、ワクチンはサルでの試験をスキップできないことがよく取り上げられる。動物試験の省略についての議論が進んでいるが、いまだ実装には至っていない状況に比べ、FDAでは数年前からこの試みを始めている。

また、医薬品は、9割以上が国際共同治験であり、グローバルで同時に開発し、申請・認可されれば効率的であるが、規制がハードルとなり同時承認がされない。そのため、「オプション1：規制基準を調和させ、相互承認を促進する規制の調和」への期待は大きい。

開発した試験方法	厚生労働省 通知の発出	JIS 制定、ISO 改訂	関連通知の発出
冠動脈ステントの耐久試験方法	薬生機審発 0831 第 1 号 平成 28 年 8 月 31 日、別添 1	・ JIS 制定、ISO 改訂 ・ ISO 25539-2 改訂中の規格に反映 (DIS)	
大腿膝窩動脈ステントの耐久試験方法	薬生機審発 0831 第 1 号 平成 28 年 8 月 31 日、別添 2	・ JIS 作成中 ・ ISO 25539-2 改訂中の規格に反映 (DIS)	
左心補助人工心臓用脱血管の invitro 血栓性試験方法	薬生機審発 0831 第 1 号 平成 28 年 8 月 31 日、別添 3	・ 研究成果を元に、ISO 25539-4 の血栓性試験の選択肢に臨床に即した in vitro 血栓性試験法が初めて記載。 ・ JIS T0403:2018 制定	
持続的血液濾過器の invitroinvitro 血栓性試験方法	薬生機審発 1122 第 1 号 平成 28 年 11 月 22 日	JIS T0404:2019 年 3 月 1 日制定	
生体吸収性ステントの耐久試験方法	薬生機審発 0522 第 1 号 令和元年 5 月 22 日、別添 1	ISO/TS 17137.(TS) Cardiovascular implants and extracorporeal systems -Cardiovascular adsorbable implants 改訂委員として取組中	薬生発 0510 第 7 号平成 30 年 5 月 10 日血液透析器、血液透析濾過器及び血液濾過器承認基準の改正について (その 3)
生体吸収性ステントの拡張保持力試験方法	薬生機審発 0522 第 1 号 令和元年 5 月 22 日、別添 2		薬生機審発 0630 第 1 号平成 28 年 6 月 30 日生体吸収性血管ステントに関する評価指標

表 1 TWIns Waseda の研究開発の成果による JIS 制定、ISO 改訂

我が国の条件付き早期承認制度は、実臨床に近い形での非臨床による先進的な医療の安全性・有効性を評価することが前提となっている。その場合は、承認後のリスクを予測しながら長期安全性のフォローアップが重要なプロセスとなる。このためには、日本における補助人工心臓に関連した市販後のデータ収集 (J-MACS: Japanese registry for Mechanically Assisted Circulatory Support) や既に議論されているような患者のデータを一元管理する医療情報データベース (MID-NET: Medical Information Database NETwork) やクリニカル・イノベーション・ネットワーク (CIN: Clinical Innovation Network) 等の実用に向けて議論の深化が必要である。

#### RS に基づく効率性と市場アクセスを改善するその他の取組

医薬品の開発に関して、経費の効率性の取組を入れるか、入れないかを議論すべきである。欧州の革新的医薬品イニシアティブ (IMI: Innovative Medicines Initiative) のように、一定の条件下での多種の医薬品のトライアルを認可すれば、プラセボ投与の減少、患者ベネフィットの向上、開発の加速に貢献する。そういった海外の先進的な取組を参考にすることも重要である。政府が企業と条件付き保険償還 (MEA: Managed Entry Agreement) を締結する取組が、日本ではまだ見られないが、MEA を上手く使うことで、効率性を向上できる可能性が有る。NDB (特定健診等情報データベース) と介護 DB を連結についての議論は、民間の医薬品開発のためのデータ提供への積極性は高くなく、患者のマッチングを含めて研究開発の効率性や迅速なアクセス法についても検討すべきである。そこでの詳細議論は、清水 央子 (東京大学大学院薬学系研究科 IT ヘルスケア社会連携講座 特任准教授) 執筆の次章を参照されたい。

また現在、厚生労働省以外にも内閣府の戦略的イノベーション創造プログラム (SIP: エスアイピー) として、病院全体で AI システムのプラットフォームをパッケージ化する取組が進んでいる。経済産業省では、医師、製薬会社、医療機器メーカー、化学メーカー、商社、ベンチャーキャピタル、官民ファンド等、約 100 団体が集まるイノベーションハブをつくる取組を開始し、政府はネットワークの支援にも力を入れている。

#### RS 専門人材の必要性

以上述べたように、政府がすでにいろいろな取組を進めている中で、本稿にて強調したいことは、RS 専門人材の必要性である。教育には時間がかかるが、資源に乏しい日本だからこそ、政府の新しい試みに対して即戦力となるような貴重な人材育成ができる環境をさらに整備することが極めて重要であると考えられる。

1. 早稲田大学レギュラトリーサイエンス研究所 レギュラトリーサイエンスとは 参照日 5 月 8 日 <https://www.waseda.jp/prj-imers/about/>
2. 俵木登美子、「医療機器と医薬品の相違点」、「第 8 回 RS 研究会」における発表、(2014 年 9 月)
3. 高橋彩来、「JSAO 2019 第 57 回日本人工臓器学会大会におけるインタビュー」、インタビューは梅津光生 (2019 年 11 月)
4. 迫井 正深、「技術革新の時代における持続可能な医療提供体制」、「専門家フォーラム 社会保障を問直す：これからの公的医療サービスの給付と負担の在り方～マルチステークホルダーが目指す国民皆保険制度～」における発表 (2019 年 11 月)



慶應義塾大学大学院経営管理研究科 教授

中村 洋

一橋大学経済学部卒業、スタンフォード大学博士課程修了 (Ph.D. (経済学))。慶應義塾インフォメーションテクノロジーセンター長、慶應義塾大学医学研究科委員 (現任)、医療科学研究所評議員、同理事 (現任)、医療経済研究機構委員 (現任)、経済産業省や厚生労働省の委員 (中央社会保険医療協議会 (中医協) 公益委員 (現任)、同薬価専門部会部会長 (現任)、同費用対効果評価専門部会部会長代理 (現任)、同専門組織委員、同費用対効果評価専門組織委員長)、医療経済フォーラム・ジャパン会長などを務める。医療経済学会理事 (現任)、「医療と社会」編集委員長 (現任)、「組織科学」シニアエディター (現任)、“International Journal of Pharmaceutical & Healthcare Marketing” editor, “Health Policy Decision Makers Forum Asia Pacific ”Scientific Committee member。

### 1. 序説

本稿では、医療システムの持続可能性とイノベーションの両立の実現に向けた取組の中で、「イノベーションのさらなる促進のためのインセンティブの開発・普及」について考察する。

イノベーションの促進が重要であるということは、総論としては賛同を得やすい。しかし、どのようなインセンティブによって促進するのか、どのようなイノベーションを重点的に促進するのかという各論になると様々な議論がありうる。

以下では、第2節において課題の設定ならびに課題の背景の考察とともに、インセンティブの類型化を行う。第3節では、日本の現状について概観し、インセンティブのみならず、どのようなイノベーションが必要かを分析する。第4節においては、改革にあたっての哲学と採用可能な政策オプションについて記述する。第5節ではそれまでの考察を整理するとともに、政策オプションの財政的なインパクト及び実現可能性を高める議論の進め方について考察する。

なお、以下の提案については、本タスクフォースの参加者の意見を筆者が取りまとめたものであり、特定一人の参加者の意見を代弁するものではない。

### 2. 課題の背景

まず本稿で課題として設定するのは、どのようなインセンティブの開発・普及が求められるかである。その課題の背景としては、政府ならびに医療保険の財政状況が厳しいことが指摘できる。したがって、イノベーションのさらなる促進のためのインセンティブの開発・普及の重要性は理解できても、厳しい財政制約下において、多額の費用を必要とするインセンティブの実現可能性は低下する。

そこで本節では、インセンティブの類型化を行い、どのようなインセンティブが求められるかを考察する。以下では、インセンティブのタイプ (型) として、まずプッシュ型とプル型を挙げる。そして、製薬企業や医療機器メーカーにとってコスト減となるインセンティブをプッシュ型、逆に収入増につながるインセンティブをプル型と定義する (図表1参照)。

ただ、プッシュ型ならびにプル型の中には、政府の財政収支の悪化につながるインセンティブもある。例えば、プッシュ型インセンティブの一つである研究開発減税は、企業にとってはコスト減となるが政府には収入減となる。また、医薬品や医療機器の保険償還価格の引き上げのようなプル型インセンティブは、薬剤費/医療費の上昇を通じて政府の支出増をもたらす (国民医療費の財源の約40%は公費である)。厳しい財政制約下においては、財政に悪影響を与えかねないインセンティブの開発・普及には限界がある。

一方で、他の経路でのインセンティブも存在する。例えば、製薬企業/医療機器メーカーにとって収入減となる施策も、インセンティブ (企業に特定の行動を促す動機づけ、誘因) となりうる。以下では、その収入減となる施策を逆プル型インセンティブと定義する (図表1参照)。逆プル型の具体的な例として、ジェネリック医薬品の普及促進ならびに長期収載品の薬価引き下げが挙げられる。これらの施策は、長期収載品への依存度が高い研究開発型企業の危機意識を高

め、新薬の研究開発意欲の向上をもたらすことが期待できる。

「インセンティブ・ミックス」の重要性 医療保険財政における財源が限られている中、このような逆プル型インセンティブは、他の施策と組み合わせること（インセンティブ・ミックス）で、「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」を可能とすることができる。例えば、上述のジェネリック医薬品浸透ならびに長期収載品の薬価引き下げは、薬剤費上昇を抑制する一方で、節約された薬剤費の一部を革新的新薬の創出のための財源に活用することも可能である。最後に、新たな別のインセンティブとして、政策変更にかかわる企業側のリスクを低減する施策が挙げられる（図表1参照）。このようなリスク低減型のインセンティブの例としては、医薬品や医療機器の保険償還価格の予見性を高める施策が挙げられる。予見性を高めることができれば、研究開発への投資に望ましい影響を与えることができる<sup>1,2</sup>。ここで留意すべき点は、リスク低減型のインセンティブは、製薬企業／医療機器メーカーの収入・コストへの直接的な影響はなく、その点において政府の財政収支の悪化に直結しないということである。

図表1：インセンティブの類型化

インセンティブの型	製薬企業／医療機器メーカーの収入・コストへの直接的な影響	例（注）
①プッシュ型	コスト減	<ul style="list-style-type: none"> <li>研究開発費への補助金制度あるいは税制優遇（減税）措置</li> <li>研究開発／生産コストを低減させるテクノロジーの研究開発支援</li> <li>様々な申請での手続き簡素化・効率化</li> </ul>
②プル型	収入増	<ul style="list-style-type: none"> <li>保険償還価格の引き上げ</li> <li>費用対効果評価に優れた製品の保険償還価格面からの評価拡充</li> <li>早期の承認あるいは保険償還</li> <li>他製品に適用できる市場独占期間の延長</li> <li>事前買取制度</li> <li>市場／需要形成支援</li> </ul>
③逆プル型	収入減	<ul style="list-style-type: none"> <li>保険償還価格の抑制</li> <li>量的抑制</li> </ul>
④リスク低減型	－	<ul style="list-style-type: none"> <li>保険償還価格政策の予見性向上</li> <li>保険償還の範囲とスピードに関する予見性向上</li> </ul>

注：例示にあたっては OECD レポート（2018）も参照した<sup>3</sup>。

### 3. 日本の現状の概観

次に、医療システムとイノベーションに関する日本の現状を、3つの視点（アクセス【Access】、コスト【Cost】、クオリティ【Quality】）から概観する。ここでは、前節に引き続き、どのようなインセンティブが求められるかを考察するだけでなく、どのようなイノベーションを重点的に促進すべきかについても言及する。

#### アクセス【Access】

まずアクセスに関して、日本では国民皆保険が達成されており、「誰でも、いつでも、どこでも」保険証1枚で医療を受けられる。この仕組みは、社会保険方式により運営されているが、公費も投入されており、「保険料」と「税」の組み合わせによる財政運営が行われている。

また、承認された医薬品／医療機器に関し、日本では国際的に見ても幅広く迅速な保険償還が行われている<sup>4</sup>。なぜなら、日本では保険償還を前提に、医療保険財政の健全性維持のため、政府が保険償還の価格水準を決定・コントロールしているからである。逆に、海外の多くの国では、価格を決定するのは企業であって、政府／保険者ではない。必然的にそれらの国々では、政府／保険者による保険償還の可否が議論となり、その決定に時間がかかる（さらに政府／保険者は、企業との交渉において保険償還制限という「脅し」を使って価格の引き下げを促すため、最終的な価格決定のタイミングにも影響を与える）。

一方で、承認時の差を示すドラッグ・ラグ、デバイス・ラグには、依然として再燃の懸念が残っている。例えば医薬品に関し、欧米において既承認で日本では未承認の抗がん剤（のべ数）は上昇傾向にある<sup>5</sup>。また、抜本的な改革であった平成30年度の薬価制度改革のみならず、同年の保険医療材料制度改革、令和2年度の両制度の改革の影響は今後顕在化すると考えられることから、上述のラグへの影響を今後見極めなければならない。ラグが拡大するようであれば、

アクセス改善のためのインセンティブ強化を図る必要がある。

### コスト【Cost】

医療のコストを全体的に見る指標として、医療費の対GDP比率が挙げられる。日本における比率は、その高い高齢化率を考慮すれば、他の先進国との比較において比較的強く抑えられている<sup>6</sup>。

一方で、医薬品のコストに関する懸念として挙げられるのは、相次いで上市される高薬価の医薬品である。ただ、医療保険財政上問題となるのは、薬価ではなく薬剤費である。薬価が高くても、投与対象患者を適正に絞り込めば、財政的な影響を抑えることができる。一方で、薬価が低くても投与対象患者が多ければ、財政上の影響は大きい。

薬剤費の上昇を抑制する（逆プル型インセンティブとしての）政策対応には、薬価抑制と量的抑制がある。前者については既に、上市時の薬価の抑制、再算定の機動的な対応、増分費用効果比（ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio）－質調整生存年（QALY: Quality-Adjusted Life Year）に基づく費用対効果評価の導入などが行われている。後者の量的抑制の例としては、適正使用のための対象患者の限定、最適使用推進ガイドラインの適用対象の拡大が挙げられる。

ただ、高薬価の医薬品の上市が今後も予想される中、さらなる対応が必要となることも十分想定される。その場合の具体策としては、上述の薬価抑制と量的抑制の強化に加え、（研究開発や生産における）コスト削減型テクノロジーあるいは費用対効果に優れた医薬品の研究開発のさらなる促進も必要となろう<sup>7</sup>。

また、医療機器のコストに関する問題として、コンピュータ断層撮影（CT: Computed Tomography）や磁気共鳴画像（MRI: Magnetic Resonance Imaging）などの高額な医療機器の普及台数（人口当たり）が国際的に見て突出して高いことが指摘されている<sup>8</sup>。一方で、一台あたりの検査数は国際的に見ても少なく、高額な医療機器の効率的な運用が求められている。運用が効率的でなければ、医療機関にとって、購入や維持・管理のためのコスト負担が経営の重荷となりかねない。そこで、医療機関側に対して高額な医療機器の共同利用を促す必要がある。一方で、このような共同利用の促進は、医療機器の販売量低下につながることから、メーカーにとっては逆プル型のインセンティブとなる。

### クオリティ【Quality】

医療のクオリティを全体的に見る指標として、健康寿命ならびに平均寿命が挙げられる。両指標とも、日本は世界のトップクラスの水準を、男女とも長年にわたって維持してきた<sup>9</sup>。一方で、様々な問題点も指摘されている。例えば、経済協力開発機構（OECD: Organisation for Economic Co-operation and Development）レポート（2019）では、心臓発作後の30日以内の死亡率、男性の喫煙率が国際的に見て高いと指摘されている<sup>10</sup>。

また、国民・患者の視点から見て、薬剤耐性菌、残薬ならびに過度な多剤併用については今後さらなる改善が必要となる。まず、薬剤耐性菌については、幅広い細菌に有効である抗菌薬は薬剤耐性菌の問題を起ししやすい。それらの抗菌薬の日本における使用割合は、他国と比較して極めて高い<sup>11</sup>。

残薬に関しては、正確な金額の把握は難しいが、単なる飲み忘れというだけでなく、医療関係者間の情報共有不足により適切な処方でなかった可能性もある。

また、過度な多剤併用（ポリファーマシー）により、意識障害、低血糖、肝機能障害などの副作用が懸念されている<sup>12</sup>。ポリファーマシーの定義は、単に服用する薬剤数の多さのみならず、それに関連して薬物有害事象のリスク増加、服用過誤、服薬アドヒアランス低下等の問題につながる状態とされている<sup>13</sup>。「何剤以上がポリファーマシー」という明確な定義はないものの、5～6種類以上の併用を問題とすべき目安と考えるのが妥当という見解もある<sup>14</sup>。ある患者調査によれば、定期的に医療機関に行って処方してもらっている薬がある患者（75歳以上）で、6種類以上処方されている割合は60%近く、全体でも40%近くに達する<sup>15</sup>。

上述の薬剤耐性菌、残薬ならびに過度な多剤併用については、使用する薬剤を減らしながら治療上のクオリティを高めることが可能である。一方で、このような施策は、製薬企業の売り上げ減につながることから、逆プル型のインセンティブとなる。

## 4. 改革にあたっての哲学と採用可能な政策オプション

次に本節では、改革にあたっての哲学を明示した後に、その哲学に基づき、採用可能な政策オプションについて考察する。まず、改革にあたっての哲学について、アクセス、コスト、クオリティの観点から、以下の2点を挙げる。

- I. 政府がコスト（診療報酬、薬価、保険材料価格等）をコントロール（抑制）する一方で、迅速で広範囲なアクセスを確保
- II. （世界的にも）高いクオリティのヘルスケア（医療／介護）サービスを提供

改革にあたっては、上述の哲学に沿った政策オプションを考える必要がある。具体的な政策オプションについては、①プッシュ型、②プル型、③逆プル型、④リスク軽減型それぞれのインセンティブについて、本タスクフォースにおける議論の中で参加者から出された意見を以下で記述する。

### ①プッシュ型インセンティブ

研究開発／生産におけるコストを劇的に低減させるテクノロジーが実現すれば、薬剤費／医療費上昇の抑制に働く。また企業にとっても、劇的なコスト低減により、高い保険償還価格がつかなくても利益を確保することが可能になる。このようなテクノロジー／製品の研究開発推進において、日本が産官学連携などを通じて主導的な役割を果たすことが求められる。

また、治験におけるビッグデータの利活用の推進の重要性も指摘された。治験のための患者リクルートならびにデータ収集（フォローアップ含む）が容易になれば、企業にとっては治験における期間短縮ならびにコスト減につながる。一方で、今後克服すべき点として指摘されたのは、ビッグデータ構築における高コストの是正ならびに企業のデータ利活用を容易にする環境整備である。

また、審査手続きの簡素化・効率化も、企業側のコスト減につながるという意見があった。その簡素化・効率化は、革新的な医薬品／医療機器へのアクセスならびに働き方改革の視点からも重要となる。一方で、審査の質を担保すること、企業側だけでなく第三者の視点を入れることが不可欠となる。

### ②プル型インセンティブ

満たされない医療ニーズに対応する革新的製品の研究開発促進のためには、企業に収入増をもたらすプル型インセンティブは必要である。しかし、厳しい医療保険財政の中、保険償還価格引き上げによるインセンティブ（プル型インセンティブ）には限界がある。そこで、重点を絞った施策が重要になる。

具体的に出された意見は、日本における幅広く迅速な保険償還の維持、新たな感染症や薬剤耐性菌への対策に資する医薬品への薬価上の評価向上、新薬創出等加算の拡充、費用対効果評価に優れた製品の保険償還価格面からの評価拡充などである。また、企業にとって早期の収入確保を可能にする優先審査制度、先駆け審査指定制度を申請企業が使いやすくするために、申請にあたっての要件緩和を求める意見もあった。

### ③逆プル型インセンティブ

上述のように、プッシュ型／プル型のインセンティブは、政府の財政負担増につながる場合もあるため、製薬企業／医療機器メーカーの収入減につながる逆プル型インセンティブを組み合わせることが求められる。

逆プル型インセンティブのこれまでの施策の例として、以下の項目が挙げられる。

- ・ 乖離率に基づいた保険償還価格の引き下げ
- ・ 費用対効果の悪い製品の保険償還価格の引き下げ（特に市場規模の大きな製品が対象）
- ・ 長期収載品の薬価引き下げ
- ・ 医療機器の内外価格差の縮小
- ・ ジェネリック医薬品普及促進（普及に関する地域格差の是正、金額シェア向上のためバイオシミラー、バイオセキムの普及促進を含む）
- ・ 高額な医療機器の共同利用促進
- ・ 薬剤耐性菌の問題につながりやすい抗菌薬の適正使用の促進
- ・ 最適使用推進ガイドラインの適用対象の拡大
- ・ 残薬ならびに過度な多剤併用の是正

これらの政策は今後も引き続き継続していくことが求められる。さらに、フォーミュラリ（院内使用ガイド付き医薬品集）の導入により、医薬品の適正使用が進み薬剤費の節約が可能という意見もあった。一方で、フォーミュラリについては、医療の個別性にも配慮し、強制ではなく、病院あるいは地域単位で、それぞれの状況に応じ、価格を含めた適切な薬剤選択を考えていく必要があるという指摘もあった。

### ④リスク低減型インセンティブ

政策変更にかかわる企業側のリスクに関し、企業は、開発コストを回収できる予見性がなければ、大きな投資はできないという意見があった。逆に、高い透明性をもって製品価格を維持できるという予見性があれば、大きなプラスの研究開発インセンティブとなりうる。

リスク低減型インセンティブの具体的な政策オプションとしては、上述した医薬品／医療機器の保険償還価格の予見性を高める施策が挙げられる。さらに、保険償還に関する予見性を低下させないために、迅速で広範囲の保険償還の維持も重要となる。

## 5. まとめ：政策オプションの財政的なインパクト及び実現可能性を高める議論の進め方

これまで考察したインセンティブの普及・開発に関する様々な政策オプションの財政的なインパクトを考える場合、それぞれの政策のインパクトを考えるのではなく、財政に悪影響を与えないよう、どのような組み合わせ（インセンティブ・ミックス）とするかを考えなければならない。

製薬企業／医療機器メーカーの収入増につながるプル型インセンティブ、コスト減につながるプッシュ型インセンティブの中には、政府の財政に悪影響を与えるインセンティブもある。そこで、収入減につながる逆プル型インセンティブ、直接的には影響を与えないリスク低減型インセンティブを組み合わせることが重要である。

これまでのまとめとして、以下の4点が挙げられる。

- (1) イノベーションのさらなる促進のためのインセンティブの開発・普及は重要である。
- (2) 改革にあたっては、アクセス、コスト、クオリティの関する以下の哲学に沿った政策オプションを考える必要がある。
  - I. 政府がコスト（診療報酬、薬価、保険材料価格等）をコントロール（抑制）する一方で、迅速で広範囲なアクセスを確保
  - II. 世界的にも高いクオリティのヘルスケア（医療／介護）サービスを提供
- (3) イノベーションを促進するインセンティブには様々なタイプ（①プッシュ型、②プル型、③逆プル型、④リスク軽減型）がある。「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」のためには、プッシュ型、プル型のインセンティブのみならず、製薬企業／医療機器メーカーにとって収入減につながる逆プル型インセンティブや、財政に直接影響を与えないインセンティブを含めた組み合わせ（インセンティブ・ミックス）が重要となる。
- (4) 企業の収入減につながる逆プル型インセンティブで、節約された医療費の一部を革新的な新薬／医療機器の創出に活用することや、研究開発型企業の危機意識を高めて革新的な製品開発へのさらなる注力を促すことも必要である。

最後に、政策オプションの実現性を高めるため、今後の議論の進め方について、本タスクフォースで出された意見のもとに5つの留意点を指摘したい。以下で述べる留意点を踏まえて議論を進めなければ、多くの関係者の賛同を得るのは難しく、政策の実現可能性が著しく低下しかねない。

第1に、改革にあたっての哲学を明確にし、その下での改革を行う必要がある。

第2に、その哲学に変更を加える際には、各論についての議論のみでは不十分であり、哲学に関する国民的な議論を踏まえて合意形成を図ることが必要である。

第3に、改革においては、国民の理解と納得を得るため、国民目線で改革の道筋を示し、国民に対する説明責任を果たすことが重要となる。例えば、インセンティブ促進のために、国民の負担増につながる新たなインセンティブの導入を求める場合であれば、負担を減らす仕組みも導入し、理解を求めることが必要である。

第4に、プラスのインセンティブとマイナスのインセンティブを、どこにどのように付与するかについては、エビデンスに基づいた議論と合意形成が必要である。

最後に、企業に対するインセンティブのみならず、診療や患者行動にも配慮しなければならない。医療提供側や患者に不利益をもたらしかねないインセンティブは関係者の賛同を得にくい。

1. Hiroshi Nakamura, Naohiko Wakutsu, "Reducing Pharmaceutical Reimbursement Price Risk to Lower National Health Expenditures without Lowering R&D Incentives," *International Journal of Economic Policy Studies*, Volume 13, issue 1 (2019): 75 - 88
2. Hiroshi Nakamura, Naohiko Wakutsu, "Reducing Reimbursement Drug Price Risk to Enhance R&D Incentives without Raising Drug Prices/Expenditures: Implications of Simulations Based on Questionnaire Survey of Pharmaceutical Companies in Japan," *Health Policy*, forthcoming
3. OECD, *Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines*, 2018
4. European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, *Market Access Delays Analysis*, 2018. Brad Millson, et al. "Access to new medicines in public drug plans: Canada and Comparable Countries," *Annual Report, Innovative Medicine Canada* (2016).
5. 国立がん研究センター先進医療・費用対効果評価室のプレスリリース参照
6. OECD, *OECD Health Statistics 2019*, July 2019
7. 中村洋「医薬品における「三位一体」改革の必要性と改革実現に向けた取り組み」*国際医薬品情報* 1146号、2020年1月27日
8. 厚生労働省中央社会保険医療協議会（2019年6月）提出資料
9. World Health Organization, *World Health Statistics*, 2018
10. OECD, *Health at a Glance*, 2019
11. 国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議、薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン、2016年
12. 厚生労働科学研究費補助金（長寿科学総合研究事業）、平成25年度総括研究報告書「高齢者の薬物治療の安全性に関する研究」、2014年
13. 厚生労働省、「高齢者の医薬品適正使用の指針」、2019年
14. 日本老年医学会「高齢者の安全な薬物療法ガイドライン2015」、2015年12月
15. 厚生労働省、診療報酬改定の結果検証に係る特別調査（かかりつけ薬剤師調査）、2019年





東京大学大学院薬学系研究科 ITヘルスケア社会連携講座 特任准教授  
清水 央子

東京工業大学大学院にて理学修士（統計学）を取得後、マッキンゼー、米国大手会計士事務所にてコンサルティングに従事。帰国後、エドワーズライフサイエンス(株)、アイ・エム・エス・ジャパン(株)などヘルスケア業界でマーケティングの責任者を歴任し、2007年グラクソ・スミスクライン(株)に入社。当時黎明期だった各種民間医療データベースを活用した治療や薬剤使用実態の分析、疫学研究および医薬品市場の分析チームをリードし、同社におけるRWDを活用した医薬品の開発、販売活動を推進。2014年東京医科歯科大学大学院 医療情報データベースの比較研究にて博士（医学）号取得。2015年5月より東京大学大学院薬学系研究科にて医療ビッグデータの利活用についての研究に携わり現在に至る。

### 1. 序説

医療の世界で「ビッグデータ」、「リアルワールドデータ」や「統計学」などの言葉が一般に話題に上るようになって久しいが、本邦では国民皆保険制度の下レセプト情報を中心にその利活用が進んでいる。これら医療情報データの活用の幅は広く、エビデンスに基づく医療政策、医療経済の適正化、イノベーション、そのための臨床開発、そして個人の健康管理など、あらゆるステークホルダーにとって有益な情報を提供してくれるものであるが、本稿では、医療システムの持続可能性とイノベーションの両立の実現に向けた取組の中で、より良い政策討議のための情報基盤としての医療情報データの課題を明らかにし、データ基盤のあり方、強化を進めるための方策について考察する。

なお、以下の議論については、筆者の意見をベースに本タスクフォースの参加者の意見を筆者がとりまとめたものであり、特定一人の参加者の意見を代弁するものではない。

### 2. 日本の医療情報データの概況と課題

#### 日本の医療情報データの現状

本邦を含む世界中が新型コロナウイルス対策という難題に取り組んでいる中、感染状況の把握、そのための政策討議のために最も基本的な指標となっているのは、ポリメラーゼ連鎖反応（PCR: Polymerase Chain Reaction）被験者数、陽性者数、入院者数、死亡者数など、全国（あるいは都道府県別）の規模感を示す「患者数」である。

例年全国でどのくらいの人数の患者さんが呼吸器疾患、あるいは肺炎等の症状で受診しているのか、その中でインフルエンザと診断されるのは何人くらいいるのか？年齢分布はどうなっているのか？重症化した例、死亡例はどの程度あるか？どのような傾向にあるのか等実態を把握する上で基本的な情報が、現在の日本ではタイムリーに把握できる環境にはない。PCR検査、直近では抗原検査の保険適用が議論される一方で、インフルエンザの簡易診断（インフルエンザウイルス抗原定性検査）は、2016年度には2,457万回、2017年度には3,203万回行われたことが報告されているが<sup>1</sup>、昨シーズン（2018-19シーズン）については未だ報告が出ておらず（2020年5月現在）、直近シーズンの状況を知ることとはできない。

他にも医療の安全性の確保、医療経済の健全化の観点から、重複した検査による医療の無駄、高齢者への多剤投与の課題等さまざまな課題が議論されているが、全国での例はもちろんのこと、個別の患者の薬剤の併用状況も「お薬手帳」などアナログな管理に頼っているのが実情である。

#### 日本の医療情報データの中心は「レセプト」

本邦では国民皆保険制度の下、全国民の保険医療についての情報がレセプト（診療報酬明細書）に反映されている。レセプトは医療費の患者負担分（多くの場合は3割）の残り（同7割）の「請求書」であるため最低限必要な項目が記載されており、情報が構造化しやすく、カルテ<sup>2</sup>に比べて電子化が進んでいるので、比較的データベースへの集積が行いやすいという特徴がある。

レセプトやカルテ、検査記録や画像情報など、臨床現場における診療の記録を集積したデータベースはRWD（Real

World Data)<sup>3</sup>とも呼ばれ、治療実態を反映したものとして活用が進んでいる。広義の医療・健康関連のデータとしては他にも臨床試験データ、遺伝子データ、各個人のバイタルデータの記録など幅広いものが挙げられるが、これらは政策立案、医療経済の適正化、臨床開発、疫学研究など幅広い分野で活用が期待されており、政府も医薬品の Post Marketing Surveillance（市販後調査）の一部置き換えなどの検証を進めているところである。

レセプトをベースとしている医療情報データベースでは、診療報酬（医科レセプト）や保険調剤（調剤レセプト）についての明細から、どのような治療が施されたのか、どの医薬品がどのくらい投与されたのか、などの情報が載っているため、患者の受診状況、治療実態などを把握できると同時に、保険料ベースでのコストの算出も可能である。また一人の患者について複数の医療機関にまたがる治療履歴を追うことができ、患者単位での治療の流れや併発状況の把握に適している。一方レセプトの欠点として、所謂レセプト病名（診療報酬請求のための傷病名）であることがよく指摘されるが、その他に、治療内容（診療報酬の項目）はわかるが、そのアウトカムや転帰については明解でない点が挙げられる。またワクチン接種や OTC 薬の投与など保険外の医療についての記録と結びつけることは難しい。

本邦では JMDC<sup>4</sup>（健保組合ベース）、JMIRI<sup>5</sup>（院外調剤薬局ベース）、MDV<sup>6</sup>（DPC 病院ベース）といった民間の会社が、契約している機関から取得したデータを匿名加工した上で格納することによりデータベースを提供しているが、企業努力によりデータ検索や集計が可能なウェブツールなども用意しており使い勝手が優れているものも多いため、製薬会社などを中心に 10 数年以上前からその活用が進んでいる。

### 日本の「医療情報データ」相関図

日本国内に集積されている各医療情報データベースに含まれる情報の粒度や項目数、全国の悉皆性という 2 軸でとらえプロットしてみると、図 1 のようになる。情報量を多く取ろうとすると必然的に全国での捕捉率は限定的になり、一方医薬品の販売データのように、患者情報は一切なく何錠販売されたかだけに情報量を絞れば、全国を網羅することが可能になる。

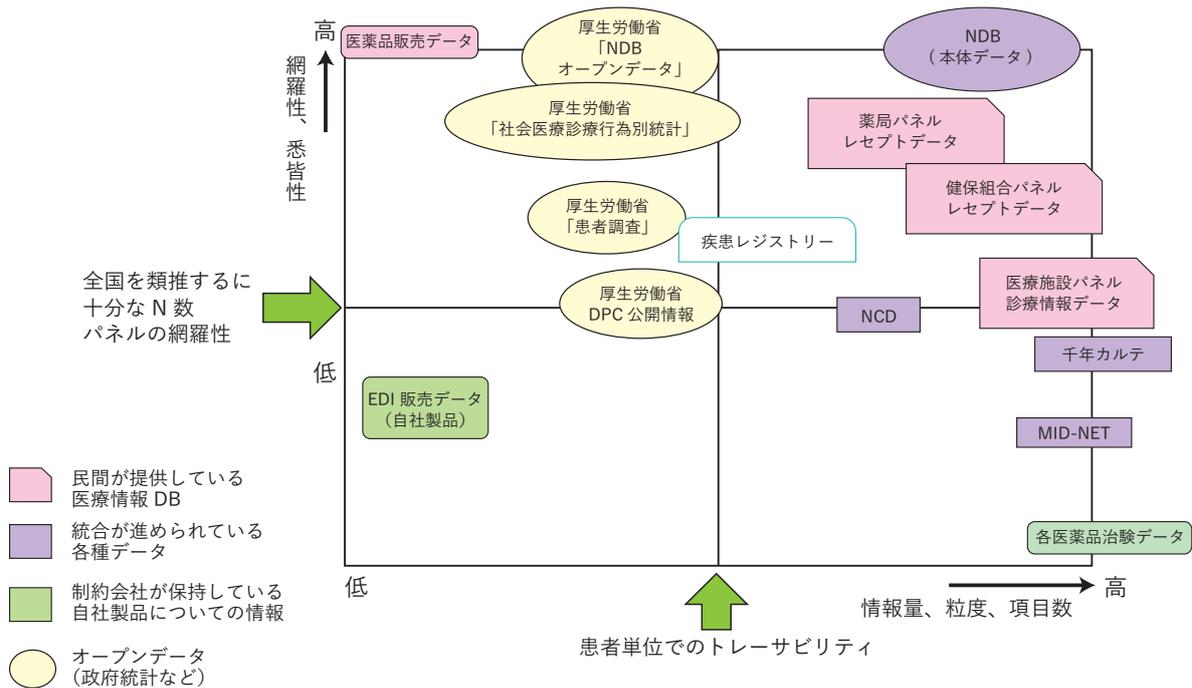


図 1

このような状況を背景に、筆者は日本には本来の意味での医療に関する“ビッグ”データは存在しておらず、スモールデータが散在し、それらを組み合わせることでビッグデータとして活用できる状況であると認識している。すなわち ICT の進歩などに伴い、各種の医療や健康に関する大量な情報を容易にタイムリーに補足し集積することが可能となってきたものの、それらの情報は分散して集積されているため、個々のデータベースから得られる情報は限定的となっている。しかしこれらから得られるデータをうまく組み合わせれば情報がリッチになり、“ビッグ”データとして活用し得る環境が整ってきていると言える。これら大量なデータに AI などを導入することにより、それらの情報からより有益な知見が得られる可能性も広がっている。

## 政府主管の医療情報データ

図1に示す中で政府主管の大規模医療情報データベースとしては、NDB<sup>7</sup>やMID-NET（2018年4月運用開始）<sup>8</sup>が挙げられる。表2は、厚生労働省が定期的な調査に基づき公開している主な医療／健康関連のオープンデータである。これらの特徴として、全国の網羅性が高く、多くは都道府県単位でデータが取れる他に、長年にわたり同じ定義、フォーマットで調査を続けているため、長期にわたる傾向を捉えることができる点が挙げられる。一方で、データの更新が遅いことに加え、既定の項目を組み合わせた集計値での公開のため、必ずしも解析者の目的にかなった数値が得られない場合も多い。

統計名	概要	公開頻度	最新データ年 (2020.4.1 現在)
患者調査	病院及び診療所を利用する患者について、その傷病状況等を明らかにする本調査は、統計法に基づく基幹統計『患者統計』の作成を目的とする統計調査	3年に1度	2017年
DPC導入の影響評価に係る調査	DPCについては、我が国における急性期入院医療に初めて本格的に導入された包括評価制度であることから、中央社会保険医療協議会の付託を受け、DPC評価分科会のもと本調査を実施し、制度導入の影響評価を行うとともに、診断群分類の継続的な見直しのための資料とするものである	年次	2018年
社会医療診療行為別統計	医療保険制度における医療の給付の受給者にかかる診療行為の内容、傷病の状況、調剤行為の内容及び薬剤の使用状況等を明らかにする	年次	2018年
NDBオープンデータ	レセプト情報・特定検診等情報データベース（以下NDB）に蓄積されたレセプト情報及び特定健診情報を抽出し、NDBオープンデータとして公表	年次	2017年
医科・調剤医療費の動向調査（旧調剤医療費の動向）	調剤レセプト（電算処理分）のデータから調剤医療費における技術料、薬剤料の動向や医薬品の種類別の状況等を分析し、制度改正等の基礎資料とする	年次 月次	2018年 (2019.10月)

表 2

## 大規模医療情報データベース NDB

前述のように、本邦では民間が提供するRWDが中心であるが、全国のレセプトのほぼ全数および特定健診・特定保健指導情報を格納したNDBが集積され、2013年度より本格的に第三者提供が始まった。NDBは1億人を超える人口のほぼ100%が加入する国民皆保険の下に集められたレセプトであり、年間延べ約20億件という諸外国と比べても規模の点では突出しているデータベースであり、本邦の医療情報基盤のベースとなるべくその活用が期待されている。

NDBの成り立ちは

「高齢者の医療の確保に関する法律」に基づき、医療費適正化計画の作成、実施及び評価のための調査や分析などに用いるデータベースとして、レセプト情報及び特定健診・特定保健指導情報を格納・構築しているもの

であり、患者IDは匿名加工されているものの個々の患者の病歴など機微な情報を含むという理由から、現時点では国の行政機関、医療保険者の中央団体等の他には、有識者委員会による審査を経た上で研究機関に所属する研究者に対してのみ利用が認められている。その上解析にあたっては多岐にわたる要件が定められており、利用者において大きな障壁となっている。なおオンサイトリサーチセンターは当初その目的で試行的に設立されたものであるが、十分な予算がない中で、用意されたハードウェアでは解析できるデータ容量が限られている上に、窓がないなど劣悪な環境の中に設置されているおり、解析者のインフラとはなり得ていないのが実情である。結果としてNDBの利活用は限定的にとどまっており、本邦において最もよく活用されている医療情報データベースは前述のJMDCをはじめとする民間企業が提供するものとなっている。民間のデータベースは質が高い一方で高価であり、国や行政機関が政策討議を行うために活用することは難しく、本邦ではエビデンスに基づく議論が行える環境が整っているとは言えないのが現状である。

本稿では、短期的にはNDBを中心に今既に運用が始まっているデータベースの活用の推進に向けた方策を検討し、さらに中長期の視点では、より良い政策討議のための情報基盤のグランドデザインを描き、データの解析プラットフォームの構築、それに基づく既存のデータの統合と新たなデータの創生を進めるための仕組みとその方策について検討を行う。

### 3. NDBとその活用にあたっての課題

NDBのデータ提供の形式には、①解析に必要なデータセットの提供を受けて自らが解析を行う「特別抽出」、②指定したフォーマットで集計値として提供を受ける「集計表情報」、③単月のデータを提供される「サンプリングデータセット」の3種類あるが、本稿では活用の幅が広い①「特別抽出」について述べる。

NDBには「レセプト」データであるがための共通の課題はあるものの（前項）、全国のカバレッジ（悉皆度）は高く（電子化されているレセプトのほぼ100%）、保険で行われたすべての診療内容（診療報酬項目単位）が分かるという点で、保険医療の実態やコストを把握する目的としては最も適切なデータベースの一つと言える。また古くは2009年4月からのデータが集積されており、長期にわたる患者単位での受診/治療状況の追跡のみならず、各患者の複数の傷病での受診歴や、同一傷病での異なる医療機関にまたがる治療記録なども追うことが可能である。

NDBの「特別抽出」での解析を行うにあたっては、以下のような課題が挙げられる。

#### 使い勝手、解析しやすさ

NDBの解析にあたっての技術面、制度上の課題として、以下が挙げられる。

- マスター（医薬品、医療機関マスターなど）が整備されていないために、個々の申請者がマスターを作らないと、データ抽出の条件を設定することができない。
- 探索的研究は基本認められておらず、事前に申請し承認された目的のための必要最小限のデータセットだけが提供される。データ提供を待つ間（通常約1年）に解析対象のデータの内容や書式の変更が必要となった場合、修正内容によっては別途審査が必要な場合があり、変更は事実上推奨されていない。
- NDBの中では個々のデータに2つの患者ID<sup>9</sup>が付与されており、その突合により一人の患者について婚姻などで姓が変わった場合や保険組合の異動をまたいだ観察が可能とされている。野田ら<sup>10</sup>によれば突合率は80-98%程度となっているが、この作業が解析者にとってデータセットの取得から解析を開始するまでの大きな負担となっている。医療ID（マイナンバーなど）の付与が長く議論されているものの、個人情報保護の観点などから実現していないため、IDの突合作業自体が研究対象になっている現状がある。
- 申請時に登録された解析者たちは当初の計画に沿った形で解析を進めていくが、対象疾病や治療の専門家に相談するための共有が許されているのは、あらかじめ申請した集計表の様式のみであり、さらに値が10等未満の場合には、その数値は“-（ハイフン）”として記載しなければならない<sup>11</sup>など、多くの規制がある。このため、解析者が専門家から得られる知見が限定されてしまう恐れがある。

#### アクセサビリティ

現在NDBの利用は国の行政機関、医療保険者の中央団体、あるいは研究機関に所属する研究者などに限られており、製薬会社など民間の会社の利用は認められていない。現時点でNDBの申請手続きにおいては以下のような課題が挙げられ、申請者にとって大きな負担となっている。

- 申請手続きが極めて煩雑であり、申請者はNDBのデータ構造について相当の知識を持っていることが求められる。これに対し、申請の応対や指導を行う窓口（現在NTTデータ）、厚生労働省の担当者による事前審査、有識者委員による審査、その後の対応など、申請からデータ取得に至るまでの過程で相当のリソースが必要となっている。
- 現在申請（2020年度は4回）からデータ入手までのリードタイムはほぼ1年であり、タイムリーな解析は不可能な状況である。

#### 解析環境に関する制約

現在データセットの取得後の解析環境の基本的な条件としては以下が求められている。<sup>12</sup>

1. レセプト情報等の利用場所は国内であること。
2. レセプト情報等を複製した情報システムを利用、管理及び保管する場所は、あらかじめ申し出られた施設可能な物理的なスペースに限定されており、原則として持ち出されないこと。
3. レセプト情報等を複製した情報システムは、インターネット等の外部ネットワークに接続しないこと。
4. 提供されたレセプト情報等は、あらかじめ申し出られた利用者のみが利用することとし、そのほかの者へ譲渡、貸与又は他の情報との交換等を行わないこと。

これらの条件を満たすために、多くの申請者は以下のように運用を行うことになる。

- ▶登録研究者のみが入室可能な「NDB専用室」を設置し、提供されたデータセットをコピーできる大容量のHDDあるいはサーバー、解析のための専用のハードウェア（PCなど端末）および解析のためのソフトウェア（SASなど）等を用意する。
- ▶「NDB専用室」は施設され入退室は厳重に管理されなければならない、上記ハードウェア類は、使用しないときは同室内の施設されたキャビネットなどに保管し、さらに盗難防止のために鎖などで繋いで保管する。さらに厚生労働省の「リスク分析・対応表」には、もし入退室の“記録漏れ”があった場合（“残存リスク”）の対応策まで提示することが推奨されている。

なお、東京大学と京都大学内にあるオンサイトリサーチセンター<sup>13</sup>は、その目的で試行的に設立されたものであるが、十分な予算がない中で、用意されたハードウェアでは解析できるデータ容量が限られている上に、窓がないなど劣悪な環境にあり、さらに現時点では以前 NDB を用いた解析経験のある申請者のみで使用できるため、解析者のインフラとはなり得ていないのが実情である。

本稿では個々の課題についてこれ以上の説明は控えるが、この中で短期的な対応が可能であるマスターの課題について、以下に詳説する。

NDB 解析に限らず、複数のデータベースからの情報を突合した多くの解析では、以下の4種類のマスターデータが必要となる。

マスターデータ種類	例；件数
傷病名	レセプト電処理用傷病名 約 26,000
医薬品	医療用医薬品 約 21,000 規格
診療報酬コード	医療診療行為 約 7,500
医療機関	全国 約 18 万施設

NDB には古くは 2009 年からのデータが蓄積されているが、それら過去のデータを活用するためには、マスターデータにもその時点からの変更履歴も含めた情報が集積されていなければならない。情報源として一般公開されているリストやマスターは元来レセプト申請・審査、医薬品の物流管理など別の目的で構築されたものであるため、解析のためのマスターデータの構築には相当量の作業が必要となる。ここでは、その中でも比較的高度な専門知識を必要とせず整備が可能な医薬品マスターと医療機関マスターについての課題をまとめた。

#### ○医薬品マスター

医薬品のマスターデータ構築にあたって参照できる公開情報として、医療情報システム開発センター (MEDIS-DC: Medical Information System Development Center)<sup>14</sup>などいくつかあるが、これらは元来レセプト申請・審査や医薬品の物流管理などの目的で構築されたものであるため、医療データの解析のための「医薬品マスター」の構築にあたってはさまざまな課題がある。<sup>15</sup>

- ・ 公開されているのはその時点でのマスターであり、過去に遡ったリストは存在していない。すなわち過去には使われていたが現在は販売中止になっている医薬品は掲載されていない。過去の製品のリストが入手できたとしても、名称変更などに伴い医薬品コード (附番) が変更になった場合、同一薬剤を同定することが容易でない。
- ・ 医薬品データの解析に重要な以下の項目が記載されていない

◇「成分」についての情報は厚生労働省サイト「薬価基準収載品目リスト及び後発医薬品に関する情報について」から取ることができるが、成分の表記が統一されていないケースもあり、成分ごとに薬剤を括ることが困難なケースがある

例：「タキソテール点滴静注用 20mg」(先発品)の成分は「ドセタキセル水和物」であるが、後発品の多くの表記は「ドセタキセル」となっている。

◇複数の剤型や規格が存在する薬剤における数量分析の場合、成分量に換算した分析ニーズを満たす「成分量」に関する項目がない。このことは、データ解析目的で不都合であるだけでなく、医療過誤の一因となっていることも見逃してはいけない。

例：「タミフルドライシロップ 3%」には「オセルタミビルリン酸塩」が薬価単位 1g あたり 30mg 含まれているという情報は、これらのマスターには記載されていない

なおこれらの情報は各医薬品の添付文書などには記載されているが、添付文書は構造化された情報でないために、解析対象となっているすべての製品の添付文書を閲覧するというのは現実的ではない。

#### ○医療機関マスター

NDB では、診療を行った医療機関の特定はできないが、施設属性 (所在地、病床数、特定機能病院か否か等) フラグを付けた形でのデータの提供が依頼でき、属性による治療実態の差異などの解析が可能となる。そのためには全国にある医療機関約 18 万施設について必要な属性情報を付けたマスターを作成しなければならない。すなわち各解析者は、全国 8 箇所の地方厚生局が公表する管轄下の都道府県毎に所在する医療機関リスト (非構造化データ) をダウンロードし統合する必要がある。さらに、公開されているのはその時点のリストであり、過去に存在していたが現時点では廃業あるいは組織形態の変更などに伴い医療機関番号が変更になっているものについては抽出することができない。このためリストに一部誤りや漏れがあるままに解析を行ってしまったケースも起こっている。

マスターデータは本来データベース自体の提供と併せて準備しなければならないものであるが、当初より限られた運用予算で第三者提供がされている中で、多くの関係者が課題を感じつつも、構築を行う動きにはなっていないのが実情である。

## 4. 採用可能な施策オプション

前節までに論じてきた課題に基づき、医療情報基盤の構築にあたってとるべき具体的な施策を、短期、中期、長期に分けて議論を行う。

**短期的（1年以内）：**関係者・機関の合意が取れば、すぐに着手できるもの。必要な予算も限定的

第一に、既に集積されているNDBの活用を活性化するために、NDBの運用方法を改善することである。まずは解析のためのマスターデータ（前節で述べた医薬品および医療機関マスター）の整備を行うこと。いずれもNDBデータの集積を開始した2009年4月まで遡りつつ最新時点までの変更履歴を含むマスターを構築し、今後毎月の更新については、厚生労働省と協力し情報公開の際の仕様および自動更新できる仕組みを作り上げることである。これにより用意されたマスターデータの利用については、最低限の費用を利用者に負担してもらうことで運営コストを賄うことも検討するべきと考える。なお医療機関マスターの構築についてはNDBユーザー会で改善に向けたイニシアティブ（分科会）も動き始めており、筆者も協力者となり構築に向けた活動を始動したところでもある。

さらに、データの公表方法にも規制が多いが、これらも従来の枠にとらわれず運用を見直す段階にきているのではないだろうか？これらの規制の多くは、NDBの第三者提供が決まった2009年当時の技術と周囲の状況を基に定められたものであり、その後日々の運用に追われる中、規制そのものを見直す動きにはなっていない。ここで今一度原点に立ち戻り、NDBなど集積されているデータをいかに活用するか、そのために必要な運用方法、新しい技術の採用を考えるべき段階にきているのではないかと考える。

第二に、解析環境についての規制の見直しは最小限のコストで実現可能なことの一つである。個々の申請者が「NDB専用室」を設け解析環境を用意することは、申請上の重い負担となっている。これに対し、高度なセキュリティをかけた共同のNDB解析用のネットワーク環境を用意し、各申請者からの利用費で運用費を賄う形にすれば、データ漏洩などのリスクはむしろ小さくなることに加え、解析者自身の負担を最小限に抑えた上で大規模データの解析が容易になる可能性があり、活用の幅が広がることが期待できる。

さらに加えると、昨今新型コロナウイルス対策でテレワークを推進している中で、研究者が各自の執務環境で責任をもって解析作業を行えるよう、「専用室」という規制自体の緩和も検討すべきタイミングと考える。

**中期的（1-3年）：**有識者と若干の意見調整を行えば、実現可能と思われるもの。予算化は必要だが、データ提供の一部を有償とすることにより追加予算は限定的

まず第一に、NDBの安定的かつ持続的な活用を推進するために、維持、運用のための予算の増強は必須である。データベースのシステム自体の構築、運用コストに加え、大規模データの活用を推進するためには、申請手続きや審査、データ抽出作業などの簡素化と同時に、周辺の人的リソース、具体的には同作業を行うリソースの増強や解析者のためのサポート体制の強化が重要である。

第二に、上記の予算確保の観点からも、現在政策担当者や研究者に限られているNDBの活用を一定の条件の下に民間企業にも広げ、運用費用を賄うだけの使用料を徴収していくという議論も進めるべきと考える。同時にNDBが全国をカバーする巨大なデータであるがゆえに、NDBからランダム抽出した5%程度のデータのサブセットを提供することも、個人の特定がされるリスクを抑えた上で、自由な発想で活用の幅を広げることにつながる可能性があり、検討を進めるべき施策の一つである。

現在NDBと介護データやその他の保健医療分野の公的データベース（DPCデータベース、全国がん登録データベース、指定難病・小児慢性特定疾病データベース、MID-NET）との連結解析を可能としようとする構想も進められている。これに加えて上記に提言した短中期の施策を行うことにより、NDBを中心とする日本の医療情報データの活用の幅が飛躍的に広がることが期待される。

**長期的（3-5年）：**これまでの議論を集大成し、医療データ基盤のランドデザインの再構築と、法改正に伴う対象データの拡大

前述の通り短中期的にはNDBを中心に活用を進めることが現実的な選択肢であるが、長期的にはNDBをベースとしながらも、現在散在し個別に構築・運用されているさまざまな医療情報やデータベースを相互活用できる共通プラットフォームの設計（ランドデザイン）と構築を行うことが重要である。

プラットフォーム上に載せるべきデータの一つとして、個人単位で医療や健康に関わる情報を集積していくPHR（=Personal Health Record）は、医療だけでなくその周辺の情報、例えば患者の睡眠やバイタル情報、保険外での治療（OTC薬、ワクチン接種など）の記録まで、個人の健康に関する機械可読な情報を集積し俯瞰できるものとして、極めて有用である。ただ、日本は欧米諸国に比べ患者の医師への依存度が高く、自分自身の健康をPHRとして管理したいというニーズは必ずしも高くはない。これに対しては啓発活動を行うと同時に、患者側にとっても利便性を感じるサービスに落とし込むことも重要である。

国としての情報基盤としての医療情報プラットフォームの構築と活用においては、その目的やゴールを明確に示し、各ステークホルダー（政府機関、医療従事者、患者や家族のみならず、保険組合、支払基金や製薬・医療機器メーカー等）

と共有することにより、相互理解を得ることが極めて重要である。そのためには、個人情報保護法の統一した解釈の下に、匿名加工した上での個人単位での医療記録の安全かつ有益な活用を推進していくことが肝要である。これまではリスク面からのネガティブな議論が優勢であったが、データベースを広く活用するためにどのような運用をしていくべきか、という観点からの議論に移行するべき時期がきており、そのための法整備も急務である。

カルテやレセプトの情報を提供した医療機関や保険組合へのコストを補填する、さらに何らかのインセンティブを与える、その一方で患者に対してもフィードバックやベネフィットの供与、その他のデータ提供元や協力者に対してインセンティブを与えることは、今後政策基盤としてのデータプラットフォームの構築と安定的かつ持続的な運用のためには避けては通れない議論である。データ利用料の他にも、データから得られる情報による保険医療の健全化の一部を財源として、例えば医療機関には「データ提供加算」、患者には保険料の減額のような形で返すことにより保険医療そのものから財源を確保する仕組みも検討するべきではないだろうか。

「電子政府」の成功例として知られるエストニアでは、診療に関わる基本的な情報が中央に集積されているが、国民はリスクを想定しつつも、1991年建国の当初からありその利便性から、国民の中に浸透している。「医療データを提供することにより、自身にとってどのようなベネフィットがあるのか、どう便利なのか」を国民が体感することにより好循環が生まれた好例と言えよう。

## 5. 課題の本質と政策の実現可能性についての議論

前節で述べたように、現在散在しているさまざまな医療情報やデータベースを相互活用できる共通プラットフォームの設計と構築を行い、それぞれに含まれる情報、データとしての価値を最大限に生かしながら、医療の個々の課題、質・安全性の向上、イノベーションの実現や医療経済の健全化などに役立てることが極めて重要である。しかしながら、そのベースとなるべきNDBの「第三者提供」にあたっては多くの制約があり、かつ推進するための体制も十分とは言えない状況である。すなわち運用面での課題がゆえにNDBの活用が進まないために、医療データを集積すること、その意味、目的などが共有しにくい状況にある。

この悪循環を断ち切るために、短期的にはマスターを整備し各種の規制を見直すことにより使い勝手を改善し活用を推進する一方で、中長期にはNDBをベースとした日本の医療データの解析プラットフォームを構築し、医療従事者や患者とデータの活用目的などについて共通認識をもち、国民全体がステークホルダーとしての役割を担うことが必要である。その際避けて通れないのが個人情報保護の視点である。本稿では最後に、NDBなど医療情報データ、RWDという形で集積された場合における個人情報漏洩のリスクについて検討したい。

まず、データベースの中に蓄積されている情報が、通信や解析の過程で外部に漏れてしまう可能性。これについては、データベースに格納されている段階で匿名加工されている他、最新のセキュリティ技術を導入することにより、蓄積しているデータサーバーや通信の過程で情報が漏れるリスクは最小限と考える。

次にNDBの利用にあたり、個人が特定できてしまうリスクを鑑み、対象者が少ない切り口での詳細な解析を認めていない点。解析者はそもそも個人の特定を目的に研究を行っているわけではない、という前提に立てば、万が一個人が特定できてしまった場合、解析者に臨床医の患者に対するものと同等の守秘義務を課することによりそのリスクを回避するべきではないだろうか。

一方で患者側のもつデータを提供することへの不安については、前述のようにPHRを集積し、そこから本人がベネフィットと感じるようなサービスの提供や保険料減額などの対応、さらにはこれら患者のデータを活用し、医療のイノベーションにつながる例を示していくことも必要であろう。今回の新型コロナウイルスの流行の中で、中国と韓国では、感染者の行動履歴を防犯カメラやGPSから解析し、それを地図上に示すことにより、自分が感染者と濃厚接触にあった可能性を測るアプリを開発した。日本で同等のサービスを行うことは法的にも技術的にも不可能であるが、賛否はともかく、中国や韓国の国民がこの非常時に本サービスを楽しむことにより、個人情報に国家に握られていることに一定の理解を示したことは興味深い。

医療情報データのステークホルダーは、医療提供側、関連企業や組織、研究者、そして患者やその家族、すなわち全国民である。エビデンスに基づく医療政策、医療経済の適正化、医療イノベーションの実現を共通のゴールとし、提供された医療情報データの価値を高めていくという循環を起すための議論を推し進めていくことを期待したい。

1. 第3回、第4回 NDB オープンデータ (<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000177182.html>)
2. 日本のカルテの電子化率 2017年全国平均約32%；「施設調査」平成29年医療施設（静態・動態）調査 上巻63表、同122表より
3. RWD (Real World Data：リアルワールドデータ) レセプト（診療報酬明細書）や電子カルテなど、臨床現場から得られる患者単位の記録や情報を二次利用するために、患者情報などを匿名加工して集積したデータベース。臨床現場における実態（リアルな世界）を示すものとして、リアルワールドデータと呼ばれる
4. JMDC (株式会社JMDC) <https://www.jmdc.co.jp/>
5. JMIRI (株式会社医療情報総合研究所) <https://www.jmiri.jp/>
6. MDV (Medical Data Vision; メディカルデータビジョン株式会社) <https://www.mdv.co.jp/>
7. NDB (National DataBase；レセプト情報・特定健診等情報データベース)
8. MID-NET (Medical Information Database Network) <http://www.pmda.go.jp/safety/midnet/0001.html>
9. 患者ID 1（保険者番号、被保険者証の記号・番号、生年月日、性別をもとに生成したハッシュ値）、ID2（氏名、生年月日、性別によるハッシュ関数）
10. 野田龍也ら「レセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）における患者突合（名寄せ）手法の改良と検証」厚生指針；第64巻第12号（2017年10月）
11. 「レセプト情報・特定健診等情報の提供に関するガイドライン」第12-2(1)より抜粋 <https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12401000-Hokenkyoku-Soumuka/0000135460.pdf>（1）最小集計単位の原則① 公表される研究の成果物において患者等の数が原則として10未満になる集計単位が含まれていないこと。また、集計単位が市区町村（政令指定都市の場合の行政区を含む。以下同じ。）の場合には、公表される研究の成果物において、以下のとおりとする。 i）人口2,000人未満の市区町村では、患者等の数を表示しないこと。 ii）人口2,000人以上25,000人未満の市区町村では、患者等の数が20未満になる集計単位が含まれないこと。 iii）人口25,000人以上の市区町村では、患者等の数が10未満になる集計単位が含まれないこと。
12. 「レセプト情報・特定健診等情報の提供に関するガイドライン」第6-4 審査基準（4）レセプト情報等の利用場所、保管場所及び管理方法より
13. 2020年4月以降は京都大学および厚生労働省の施設内の2か所で運用の予定
14. MEDIS 一般財団法人医療情報システム開発センター <http://www.medis.or.jp/>
15. Eiko Shimizu, et al. Optimal drug master that enhances real world data analysis and improves medical safety. ACPE2019; October 11-13, 2019; Kyoto

法政大学経済学部 教授

小黒 一正



京都大学理学部卒業、一橋大学大学院経済学研究科博士課程修了（経済学博士）。1997年大蔵省（現財務省）入省後、大臣官房文書課法令審査官補、関税局監視課総括補佐、財務省財務総合政策研究所主任研究官、一橋大学経済研究所准教授などを経て、2015年4月から現職。財務省財務総合政策研究所上席客員研究員、経済産業研究所コンサルティングフェロー、会計検査院 特別調査職。内閣官房「革新的事業活動評価委員会」委員。鹿島平和研究所理事、新時代戦略研究所理事、日本財政学会理事、日本医療福祉建築協会 理事、キャノングローバル戦略研究所主任研究員。専門は公共経済学。

### 1. 序説および課題の背景

公的医療保険は、国民生活の安定と福祉の向上に寄与するため、必要かつ適切な医療サービスをカバーしつつ、重大な疾病の医療費（薬剤費を含む）等に対するリスク分散を図るもので、資源配分機能といった財政の一部を担う重要な機能である。新型コロナウイルスのパンデミックは、日本や世界において、創薬としてのワクチン開発や医療基盤の重要性を改めて認識させている。しかしながら、日本の公的債務残高（対国内総生産（GDP: Gross Domestic Product））は200%超で累増が続いており、日本の財政状況は厳しい状況に直面している。例えば、国の2020年度予算（当初）の編成では、社会保障関係費が過去最大の35.8兆円に達したが、国と地方の公費や保険料で賄う社会保障給付費も120兆円超（年金が約60兆円、医療が約40兆円、介護が約10兆円など）に膨らんでいる。

このような状況の中、2019年10月1日、消費税率が10%に引き上げられ、2000年代半ばに始まった「社会保障・税一体改革」が終了した。だが、社会保障の改革は、これからが本当の正念場である。低成長で貧困化が進み、人口減少・少子高齢化が本格化する中、いま政治に求められているのは、医療財政を含め、持続可能な社会保障の再構築である。

政府が改革議論の参考に位置付けるのは、2018年5月公表の「2040年を見据えた社会保障の将来見通し（議論の素材）」だが、団塊の世代が75歳以上となる2025年問題もあり、不確実性が高い2040年の推計を前提に議論を進めるのは一定のリスクを伴う。

この見通しでは、高成長と低成長の2ケースで、社会保障給付費を推計した。このうち低成長のベースラインケースでは、直近（2018年度）で121.3兆円（対GDP比21.5%）の社会保障給付費が、2025年度で約140兆円（対GDP比21.8%）、2040年度で約190兆円（対GDP比24%）となる推計だ。2040年度までに対GDP比で2.5%ポイント（=24% - 21.5%）伸びる。

消費税率1%の引き上げで対GDP比約0.5%の税収増となるため、もし給付費（対GDP）が2018年度から2040年度で2.5%ポイントも増加すると、現在の財政赤字圧縮分を除いても、消費税率換算で約5%分の増税に相当する財源が必要となる。しかしながら、2019年7月の参院選に先立つ記者会見で、安倍首相は「（消費税率のさらなる引き上げについて）今後10年間くらいは必要はない」と言及している。このため、これから数年間は追加増税の議論が政治的に停滞するリスクもあり、当分の間、財政再建で重要な論点となるのは、成長戦略と社会保障を中心とした歳出改革となる可能性がある。

### 2. 改革の基本哲学と改革の優先順位

この問題に我々はどうか対処すればよいか。公的医療保険が担う基本的役割を堅持しつつ、財政再建を行うためには、「大きなリスクは共助、小さなリスクは自助」という基本哲学の下、守るべき領域を明らかにしながら、改革の優先順位を定める必要がある。これは、「給付範囲の哲学の見直し」を行うことを意味するが、それこそが公的医療保険改革の「本丸」といっても過言ではない。

では、守るべき領域とは何か。日本の公的医療保険制度は1961年に「ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC:

Universal Health Coverage)」を達成した。UHCとは、高い平等性・手厚いセーフティネットなどにより、国民の誰もが家計破綻や困窮に陥ることなく、必要かつ適切な医療サービスを利用できる状態をいう。このような公的医療保険が担う最も重要な役割の一つとして、「財政的リスク保護」(financial risk protection)という機能がある。

簡潔にいうならば、偶発的な重度の疾病に対する治療のために家計が破綻したり困窮したりすることを防ぐ機能である。財政的リスク保護は公的医療保険が担う最も重要な役割であるから、財政再建で公的医療保険の給付範囲を見直す場合、家計の所得・資産や医療負担に関する分布などを把握した上で、財政的リスク保護が機能するか否か、しっかり見定めた上で改革を進める必要がある。

すなわち、重要な視点は、例えば年齢別の自己負担を改め、軽度かつ発病確率の高い疾病(風邪などの低リスクの疾病)の自己負担の割合は高める一方、重度かつ発病確率の低い疾病(心臓病などの高リスクの疾病)の自己負担の割合は低くすることで、家計の破綻や困窮を防ぎつつ、医療給付を効率化するという視点である。

また、公的医療保険の改革で優先順位を検討するとき、3つの重要変数がある。①「診療報酬」あるいは「薬価」、②「市場規模(P×Q)」、③「年間の標準治療費」(平均・中央値・分散)である。このうち、改革案が保険財政に及ぼす影響や国民(患者)の家計に及ぼす影響を検討するとき重要な変数は、②・③の「市場規模(P×Q)」 「年間の標準治療費」である。①の「診療報酬」や「薬価」は、医療機関や製薬メーカー等にとって収益の安定性等を予測する上で一定の重要性があることは事実だが、見かけ上の変数で重要ではない。

むしろ、②の「市場規模(P×Q)」は、公的医療保険財政の持続可能性と産業競争力のバランスを図る視点を、また、③の「年間の標準治療費」は、財政的リスク保護の視点を提供するもので、これらの方が重要な変数となる。この理解を深めるため、医薬品のケースで4タイプの薬(タイプⅠ～Ⅳ)を考えてみよう。

タイプⅠ： 年間の標準治療費が小さいが、市場規模が大きいもの

タイプⅡ： 年間の標準治療費が小さく、市場規模が小さいもの

タイプⅢ： 年間の標準治療費が大きく、市場規模が大きいもの

タイプⅣ： 年間の標準治療費が大きい、市場規模が小さいもの

このうち、タイプⅠの代表例としては「湿布等」(1枚の薬価は数十円だが、年間の市場規模が1,000億円超のもの)がある。また、タイプⅣの代表例としては「キムリア」(薬価が3,349万円だが、適用対象の予測が216人で市場規模は72億円と見込まれるもの)が該当する。

公的医療保険制度では、市場規模(P×Q)の一定割合を保険料や公費で賄う仕組みとなっており、財源確保に限界があるなか、市場規模が大きい医薬品の収載が増加すると、公的医療保険財政の持続可能性が低下する。このため、保険財政の持続可能性の確保に責任をもつ財政当局は、マクロ的な視点から、「市場規模」の大きい医薬品から優先的に改革を進める誘因をもつ。他方、国民(患者)の視点では、市場規模(P×Q)よりも、「年間の標準治療費」の大小の方が重要な変数となる。このため、改革を進める場合、ミクロの家計の負担増にも注意を払い、財政的リスク保護の観点から、家計でも負担を吸収可能な「年間の標準治療費」の小さい医薬品から優先的に改革を進めるのが望ましい。また、産業競争力の視点では、開発コストの回収のために売上(P×Q)の安定性が重要であり、イノベーションに資する医薬品等の開発を促進するためには、上市後の一定期間、革新的な製品の市場規模を安定的に維持できるか否かが重要となる。特に、売上がピークに到達するのは、特許が切れる10年目でなく、約半分の5-6年が多いため、その期間の市場規模の安定性が重要となるが、市場規模が大きい場合には、保険財政の持続可能性との関係で一定の制約が課せられることはやむを得ない。

この関係では、2000年導入の「市場拡大再算定」や2016年導入の「市場拡大再算定の特例」の活用も重要だ。市場拡大再算定とは、保険収載の医薬品の年間販売額が予想年間販売額の一定倍数を超えた場合等では、薬価改定時に薬価を引き下げるものだ。この発動要件は、①予想年間販売額の2倍以上かつ年間販売額が150億円超、または②予想年間販売額の10倍以上かつ年間販売額が100億円超で、薬価を最大25%引き下げる。また、年間販売額が極めて大きい医薬品には「市場拡大再算定の特例」もあり、①年間販売額が1,000-1,500億円のものには予想の1.5倍以上で薬価を最大25%引き下げ、②年間販売額が1,500億円超のものは予想の1.3倍以上で薬価を最大50%引き下げるルールがある。

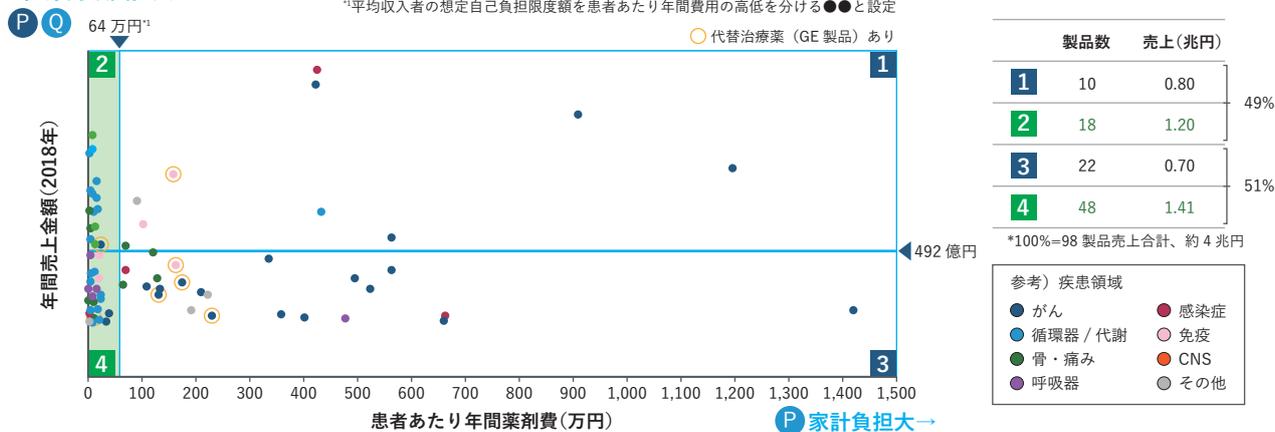
以上の前提の下、できる限り財政的リスク保護に配慮しながら改革を行うとき、改革の優先順位は、第1がタイプⅠ、第2がタイプⅡ、第3がタイプⅢ、第4がタイプⅣという順番になる。もっとも、タイプⅠ～Ⅳの医薬品における代替薬の有無も重要な判断材料となり、代替薬が存在する場合は、代替薬が存在しない場合よりも改革の優先順位は低くするのが妥当であろう。

では、このようなルールを医薬品に関する現実のデータに適用すると、どうなるか。その示唆を示すものが図表1である。この図表は、年間売上金額が200億円以上の薬価収載98製品を対象とし、2018年のJPMデータ(IQVIA ジャパン)や中医協・新医薬品一覧表から作成されている。患者あたり年間薬剤費は、中医協・新医薬品一覧表に記載のあるピーク時の市場規模予測のデータ(ピーク売上・ピーク患者数)を利用し、「ピーク売上÷ピーク患者数」で試算している。

その上で、この図表では、縦×横を2×2の4つの領域に区分し、右上の領域を「1」、その左側の領域を「2」、領域1の下側の領域を「3」、その左側の領域を「4」と付番している。また、98製品の売上合計が約4兆円であり、領域

1・2の売上合計と領域3・4の売上合計がそれぞれ約2兆円となる売上の閾値が492億円であるため、その部分に水平線を描いている。さらに、高額療養費制度を考慮すると、年収370万円の自己負担限度額が月額5.76万円であるため、平均年収の自己負担限度額を年間で64万円と設定し、領域1・3と領域2・4を区分する垂直線を描いている。領域「1」がタイプIII、領域「2」がタイプI、領域「3」がタイプIV、領域「4」がタイプIIに相当する。

↑医療財政負担大



(出所) 拙著『日本経済の再構築』(日本経済新聞出版社)第5章から抜粋

図表1：年間売上金額×患者あたり年間薬剤費

では、図表1から何が読み取れるか。まず、革新的な医薬品が分布する領域「1」の製品数は10で、その売上合計は0.80兆円しかない。一方、領域2の製品数は18でその売上合計は1.2兆円、領域3の製品数は22その売上合計は0.7兆円、領域4の製品数は48でその売上合計は1.4兆円となっており、患者あたり年間コストが低い薬剤の売上合計(領域2・4)は約2.6兆円にも達することが分かる。また、代替薬「有」の薬剤には「○」の付けているが、領域1・3と比較して、患者あたり年間薬剤費が小さい領域2・4に代替薬「有」の薬剤が多いことも確認できる。

なお、超高額薬剤の今後の利用状況によっては市場規模が想定以上に膨らむ懸念もある。このため、費用対効果分析の観点から、政府は2019年4月から費用対効果評価(日本版HTA)を導入している。日本版HTAの検討段階では、それがイギリスのように保険償還の可否に利用される可能性もあったが、結果的に償還の可否には利用せず、価格調整に用いることになった。この意味でも、市場規模の制御は効くことになる。また、超高額薬剤はその価格の高さから社会的関心を引くが、実際には希少疾病薬が多く、その薬剤を利用する患者数も少ないため、医療財政に及ぼす影響が軽微なケースも多い。費用対効果分析は、患者や社会全体から見た幅広い医療の価値の考慮が必要であり、薬価が1剤いくらかという議論よりも、エビデンスに基づき、「市場規模(P×Q)」や「年間の標準治療費」などで全体の分析(診療報酬本体を含む)を行い、改革の優先順位を検討するべきだろう<sup>1</sup>。

### 3. 採用可能な政策オプションと財政インパクト改革案1(医薬品の保険給付範囲の見直し、特別枠の設定)

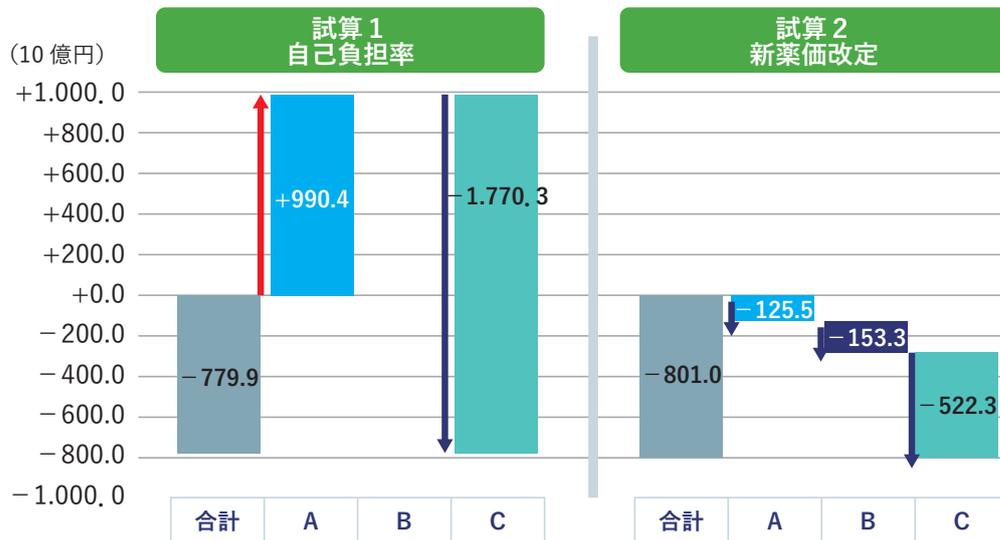
では、上記の改革の優先順位に基づき、医薬品の保険給付改革を検討すると、どうなるだろうか。そもそも、医療費適正化に向けた保険給付の見直しを考える場合、主として患者側の自己負担割合を見直す改革案と診療報酬や薬価水準、あるいは保険適用範囲を見直す改革案の2つ方向性が考えられる。例えばフランスでは、医薬品の治療上の貢献度・有用性等に応じ、段階的な自己負担率が設定されており、自己負担を「抗がん剤等の代替薬のない高額な医薬品=0%」「一般薬剤=35%」「胃薬等=70%」「有用度の低いと判断された薬剤=85%」「ビタミン剤や強壮剤=100%」等としている<sup>2</sup>。

このため一つの試算はフランスの保険給付事例を参考に、現行の年齢別の自己負担割合(原則3割、就学前=2割、70-74歳=2割、75歳以上=1割)を改め、薬剤に関する自己負担を適用疾患の重篤度や医薬品の治療における有用度等に応じて変更する案とする(改革案1)。もう一つの試算は、現行の自己負担割合は変更せず、同じく適用疾患の重篤度や有用度等を反映し、薬価水準を一律増減する案とする(改革案2)。

ここではフランスの事例を参考に、我が国の保険適用医薬品について複数の専門家による検討評価を行い、「重篤な後遺症や死につながる疾病の医薬品」(A)、「重篤ではないが、後発品が発売されていない薬効に属する医薬品」(B)、「それ以外の医薬品」(C)という3つに区分する。またこれら各々の自己負担割合を、重篤な疾患に関する薬剤には「0割」

負担としてより手厚く保険給付し、安価な後発品が存在する薬剤については後発品利用促進を図るためにも「7割」負担、残りは現状の「3割」負担とする試算を試みる。

このような前提の下、我が国における医薬品取引（数量ベース）のほぼ全てを網羅する IQVIA ジャパンのビッグデータを利用し分析した結果が図表2である。この結果から、改革案1でも現行制度の適正化効果の水準を大きく損なうことなく、より重要性の高い薬剤の給付の重点化が可能であることが示唆される。なお当該分析は粗推計であり、高額療養費制度の影響や、自己負担変更に伴う医療需要の変化について、別途検討を要する点に留意が必要である。



(出所) 筆者作成

図表2：改革の効果

また、改革案2の試算では、現行の自己負担率は変更せず、改革案1の区分（「重篤な後遺症や死につながる疾病の医薬品」、「重篤ではないが、後発品が発売されていない薬効に属する医薬品」、「それ以外の医薬品」）に基づき、各々の薬価（市場実勢価格との乖離率調整後）を仮に1.05倍、1.03倍、0.97倍に変更した場合にどのような財政効果が生じるか試算している。これは現在の薬価改定ルールで2%に固定されている調整幅に複数制を導入することと同義であり、この改革案の試算結果でも、より重要な薬剤へ資源を配分しつつ医薬品に関する保険給付を約0.8兆円節減可能であることが示唆される。

なお、イギリスでは薬剤耐性（AMR: Antimicrobial Resistance）対策として、プル型インセンティブの一種である「サブスクリプション・モデル」（年間定額の支払いの契約によりAMR薬剤等の使用权を得る方式）の試行実験が進行中であるが、代替薬が存在せず、有用性が高いと認められた医薬品については、不確実性のある価格調整を排除するため、例えば10年間という期限を設けて特別枠の扱いとし、基本的に薬価引き下げの対象外とする方式も検討に値する。

例えば、特別枠の対象総額の上限を1兆円（GDP比0.2%）とするケースを考えよう。また、医薬品が約10兆円で、特別枠がない場合の薬価引き下げがZ%とする。このとき、薬価引き下げで約 $(10 \times Z / 100)$ 兆円の削減効果があるが、1兆円の特別枠を設定しながら、財政的に同等の削減効果を出すためには、特別枠を除いた薬価引き下げを $(Z \times 10 / 9)$ %に変更する対応が必要となる。毎年の特別枠は年間平均1,000億円となるが、特別枠1兆円を超過したときは、その増加分の影響を一律に調整するルールの設定も重要であり、市場拡大再算定やその特例・日本版医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）といった現行制度の適用のあり方についても、制度設計で別途検討を行う必要がある。

## 改革案2（医療版マクロ経済スライド）

ところで、以上の改革で確保できる財源は数兆円に過ぎないという現実も明らかであり、膨張する社会保障費の伸びに対する抑制を避けて通ることはできない。

当然ながら政府でも検討を進めており、2018年7月に閣議決定した骨太方針（経済財政運営と改革の基本方針2018）では、団塊の世代が75歳以上になる「直前の3年間（2019年度－21年度）」を「基盤強化期間」と定め、医療・介護等に関する様々な改革の検討項目が列挙されている。例えば、医療では、①外来受診時の定額負担の導入、②後期高齢者等の窓口負担の見直し、③膨張する医療費管理のための自動調整メカニズムや地域独自の診療報酬の導入などである。

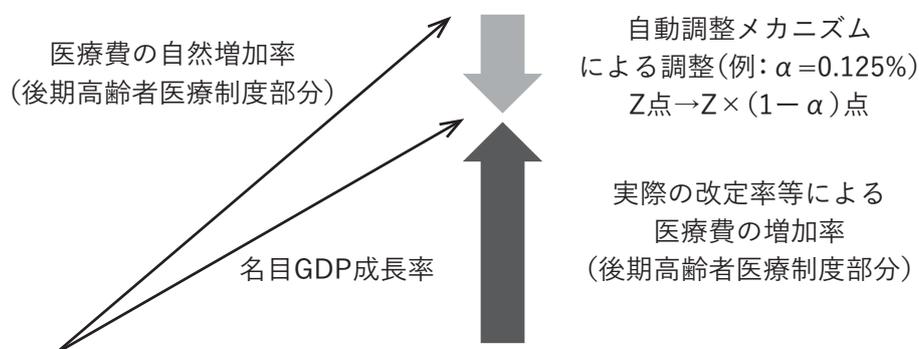
このうち注目されるのが③だが、膨張する医療費管理のための自動調整メカニズムには概ね2つの方式がある。一つは財務省案で、経済成長や人口減少のスピードに応じ、医療費が増加したときに患者の窓口負担を自動的に引き上げる方式だが、これは財政的リスク保護との関係で限界がある。

もう一つは、診療報酬に自動調整メカニズムを導入する案である。この関係で、筆者は後期高齢者医療制度（75歳以上が加入）の診療報酬に自動調整メカニズム（いわゆる「医療版マクロ経済スライド」）を導入する措置を以前から提案している。

同制度の財源（給付費）のうち9割は現役世代の保険料からの支援金と公費で賄われ、残りの1割が75歳以上の保険料で賄われているだけで、賦課方式の年金と似た構造をもつ。提案のメカニズムは、2004年の年金改革で導入した「マクロ経済スライド」を参考したものである。

診療報酬は、原則的に実施した医療行為ごとに対し、それぞれの診療報酬項目に対応する点数が全て加算され、1点の単価を10円で計算して報酬が医療機関等に支払われる。一般的に、診療報酬は、年齢にかかわらず、定められていると思われるが、一部は年齢で異なるケースもある。その事例が、後期高齢者医療制度の2008年での発足時において、75歳以上の後期高齢者に限って新設された診療報酬項目で、後期高齢者特定入院基本料（75歳以上の患者が90日を超えて入院すると、一定の場合を除き、医療機関への診療報酬が減額となる仕組み）、後期高齢者診療料や後期高齢者終末期相談支援料などである。

これらの診療報酬項目の一部は、その後の診療報酬の改定において廃止や改正が行われているが、上記の事例は、75歳以上と75歳未満の診療報酬体系を異なる仕組みで構築できることを意味する。



(出所) 拙著『日本経済の再構築』日本経済新聞出版社から抜粋

図表3：医療版マクロ経済スライドのイメージ

このため、公的年金のマクロ経済スライドと同様、例えば、現役世代の人口減や平均余命の伸び等を勘案した調整率を定めて、その分だけ、全体の総額の伸びを抑制することにはどうか。この調整のために最も管理しやすい方法は、75歳以上の診療報酬において、ある診療行為を行った場合に前年度Z点と定めている全ての診療報酬項目の点数を、今年度では「 $Z \cdot (1 - \text{調整率})$ 点」と改定することである。自己負担は診療報酬に比例するため、診療報酬を抑制しても75歳以上の自己負担（窓口負担）が基本的に増加することはない。

また、過去の趨勢的に医療費の約半分は医療従事者の人件費だが、このメカニズムの下では医療費（対GDP）は一定水準に落ち着き、人件費も成長率に連動して伸びる。

では、調整率はどの程度か。財務省の「我が国の財政に関する長期推計（改訂版）」によると、40年間で医療費等では約5%ポイントの上昇で、1年間の上昇は平均で0.125%であるため、その増加を抑制する調整率は年間0.125%に過ぎない。診療報酬を年間平均で0.125%だけ下方に調整するだけで、医療財政を安定化できる可能性があるのは「驚き」ではないか。もっとも、中長期的にみて、医療機関等への経営に及ぼす影響にも注意する必要があることはいうまでもないが、その影響分については、公的医療保険の一部を民間医療保険でも代替できるようにして、民間医療保険の方で稼ぐことができる環境整備も重要となる。

また、基本的に「1点 = 10円」とする診療報酬も再考が必要である。診療報酬については、高確法（高齢者の医療の確保に関する法律）第14条に診療報酬の特例に関する規定がある。具体的には、「厚生労働大臣は、医療費適正化計画に関する評価の結果、医療費適正化を推進するために必要があると認めるときは、一つの都道府県内の診療報酬について、他の都道府県と異なる定めをすることができる」旨の規定である。

### (診療報酬の特例)

第14条 厚生労働大臣は、第十二条第三項の評価の結果、第八条第四項第二号及び各都道府県における第九条第三項第二号に掲げる目標を達成し、医療費適正化を推進するために必要があると認めるときは、一の都道府県の区域内における診療報酬について、地域の実情を踏まえつつ、適切な医療を各都道府県間において公平に提供する観点から見て合理的であると認められる範囲内において、他の都道府県の区域内における診療報酬と異なる定めをすることができる。

2 厚生労働大臣は、前項の定めをするに当たっては、あらかじめ、関係都道府県知事に協議するものとする。

この高確法第14条の規定はこれまでに一度も活用されることがないが、骨太方針2015は、「この特例規定の活用の在り方について検討する」と明記された。介護報酬では既に地域区分ごとに異なる点数が設定されており、この特例を活用すれば、医療でも診療報酬を地域別に1点=9円にするような措置も可能である。

その際、医師の偏在対策や物価水準などの地域格差も加味し、地域別の診療報酬のあり方も検討するべきで、この特例で診療報酬の自動調整を行う仕組みも考えられる。

基本的に、診療報酬が上がれば自己負担も増加する、診療報酬が下がれば自己負担も減少するという関係をもつ。疾病別の自己負担への変更のみでなく、柔軟な発想で地域別の診療報酬のあり方についても検討を深める必要がある。

なお、高齢世代にも現役世代にも、生活に余裕がある家計と余裕がない家計があり、「負担できる者が負担する」という原則こそがあるべき姿であり、現在の年齢差別的な「窓口負担」を改め、応能負担別の「窓口負担」に変更することも重要である。例えば、年齢によらず、一律に「窓口負担」を3割とし、マイナンバー制度などを利用しつつ、所得や資産に応じて、生活に余裕がない家計の負担を1割や2割とする方策なども考えられる。

### 改革案3 (消費税やそれ以外の財源調達)

以上のほか、社会保障の財源確保を行うため、消費税率を10%から段階的に15%に引き上げる検討を同時に行うことが望ましいが、「Sin Tax」(罪悪税)等による財源調達も検討に値する。

例えば、イギリスやタイ、フィリピン等では、甘い飲料に課税する「砂糖税」が存在する(注:イギリスでは砂糖税を2018年4月に導入したが、当時の税収見積もりは初年度で2.75億ポンド(約385億円))。目的は、医療財政の持続可能性を高めるため、生活習慣病による医療費増加を「砂糖税」導入で抑制することだが、このような試みは、国家財政にとって医療費抑制のみでなく、税収増も期待でき、一挙両得の可能性もある。

2035年を見据えた保健医療政策のビジョンとその道筋を示すため、数年前に策定された「保健医療2035」提言書の35ページでも、「公費(税財源)の確保については、既存の税に加えて、社会環境における健康の決定因子に着眼し、たばこ、アルコール、砂糖など健康リスクに対する課税、また、環境負荷と社会保障の充実の必要性とを関連づけて環境税を社会保障財源とすることも含め、あらゆる財源確保策を検討していくべき」旨の記述がある。

1. 改革の優先順位を明らかにするためには、1) 国民的な議論(特に国民に納得性のある改革の必要性や順番をきちんと理解して頂くための戦略とその説明)が必要であり、2) ミクロやマクロの両面において、包括的に議論する場がないことも大きな問題である。専門家がきちんと透明性を高め、データに基づく議論ができる場を厚生労働省などに設置する検討も必要である。
2. フランスでは、無治療と比較した有用性(有効性+安全性)の程度である医療上の利益(SMR: Service Médical Rendu)によって償還率が決まり、既存の治療と比較した有用性の程度である追加的な医療上の利益(ASMR: amelioration du service médical rendu)によって価格が規定される。SMR、ASMRの評価に当たり、財政事情や費用対効果は考慮されず、SMR、ASMRは原則として5年毎に見直される。担当するHAS CT(高等保険機構 透明化委員会)にはそのリソースを確保することが求められる。SMRにより決定されるフランスの償還率は公的保険によってカバーされる割合であるが、残りの部分(その一部か全部)は多くの場合民間保険によってカバーされる。フランスでは、主として公的保険の自己負担を軽減する補足的な役割を持つ民間保険に対しても、政府の権限が強い。この点、医療保険と言えば基本的に公的保険(健康保険、国民健康保険等)を指し、公的保険によってカバーされない部分がそのまま自己負担となる可能性が高い日本とは状況が異なる。



横浜市立大学医学群准教授・東京大学大学院薬学系研究科客員准教授  
五十嵐 中

2002年東京大学薬学部薬学科卒業。2008年東京大学大学院薬学系研究科博士後期課程修了。2008年から同大学院特任助教を経て、2015年から現職。専門は薬剤経済学、医療経済ガイドラインの作成・個別の医療技術の費用対効果評価・QOL評価指標の構築など、多方面から意思決定の助けとなるデータの構築を続けてきた。著書に、「医療統計わかりません（東京図書、2010）」「わかってきたかも医療統計（東京図書、2012）」「薬剤経済わかりません（東京図書、2014）」などがある。

## 1. はじめに

本書を通じたテーマは、「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」である。医療システム・とくに社会保障システムの持続可能性を考える際には、第1章や第2章で述べられてきたような支出の効率化が不可欠になる。一方、イノベーションの原動力（むしろ、次のイノベーションにつながるような、イノベーションの「持続可能性」の担保）は、革新的な医療技術に対する適切な評価軸の確保である。

資源配分に濃淡をつけることを前提におけば、「濃」の部分が革新的な技術の評価、「淡」の部分が支出の効率化と考えられる。

医療技術の効率性のものさし、さらには価値 (Value) のものさしとして、いわゆる費用対効果 (Cost-Effectiveness) の考え方は昨今重要度を増してきた。費用対効果のデータを給付の可否や価格調整に使いつつ、効率的な医療システムの実現を目指す研究領域を、医療技術評価 (HTA: Health Technology Assessment) とよぶ。本来のHTAはより広汎な概念を含むが、ここでは狭い定義を採用している。ただ単に費用対効果の数字を出すのではなく、その結果をどのように政策に活かすかも含めた領域がHTAである。

費用対効果、具体的には費用/質調整生存年 (QALY: Quality-Adjusted Life Year) という軸で評価した効率性が、医療技術の価値 (Value) の構成要素であることは必然である。しかし、効率性=費用対効果の評価軸と、その政策応用のツールであるHTAが話題になる一方で、本来は価値の一要素であったはずの費用対効果が、「価値をあらわす唯一のものさし」のように誤用されるケースもままある。本章ではより広汎な要素としての価値のあり方を、諸外国の評価事例や研究事例を参考に展望したい。

## 2. 費用対効果のものさし・QALYを巡る議論

政策応用に使われる際の費用対効果のものさしとして最も一般的なのは、「元気な1年あたりの追加費用」、すなわち1QALY獲得あたりの増分費用効果比 (ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio) である。教科書的には、「費用の差分を計算し、クオリティ・オブ・ライフ (QOL: Quality of Life) で重み付けした生存年=質調整生存年 (QALY: Quality Adjusted Life Year) の差分で割り算する。その値を国ごとに定めた合格ライン=閾値と比較して、費用対効果のよし悪し、さらには保険給付の可否を決める」となろう。しかし、実世界での政策応用は、より多種多様な価値判断が必要になる。

まずは、「そもそもどんな1QALYも同じ価値なのか？」という問題提起である。資源の最適配分の原理を忠実になぞれば、「どのような状況下で得られた1QALYも、同じ価値として扱うべきである。それがQALYの考え方である (A QALY is a QALY is a QALY)」という考え方に帰着する。<sup>1)</sup> この場合は、老若男女を問わず「元気に1年間生きること」は等価となる。また、「今すぐ死亡する人を、1年だけ元気に延命させられる薬 (1年×1.0=1QALY)」と、「今のままでもQOL値が0.9で10年間生きられる人を、余命はそのままQOL値を1.0まで上げられる薬 (10年×0.1=1QALY)」も、同じ価値として議論されることになる。

しかし、原則を貫いて「すべての1QALYを等価とみなす」ことには異論もある。その代表格がRule of Rescue (救命原則)、すなわち「ある人が死に直面しているときに、それをもし回避できるのならば、いくらコストがかかったとしてもその人を救うべきである」という原則である。<sup>2,3)</sup> この場合、救命にともなって得られる1QALYの値打ちは、そ

れ以外の1 QALYの値打ちよりも高いと判断される。救命につながる介入を最優先すべきという Rule of Rescue の概念は直感的にはなじみやすいが、反面、「目の前の危機を救う介入」が、「潜在的な危険を回避する介入（予防など）」より常に優先されうるという危険性もある。別の例としては、QALYが障害者や高齢者の差別につながるという主張もある。まず障害者については、Harris らが指摘する“Double Jeopardy（二重苦）”の問題がある<sup>4)</sup>。すなわち、障害者はまず障害そのものの存在によってQOLが低下する（1つ目の苦難）。そして、QOLが低下しているために、「障害者を救命する介入」よりも「健常者を救命する介入」のほうで獲得QALYが大きくなり、結果的に障害者に対する介入の優先順位が下がる（2つ目の苦難）。同様に高齢者は、目立った病気がなくてもQOLが若干低下しており、なおかつ余命も短いため、やはり介入の優先順位が下がる可能性が生ずる。障害者・高齢者が不利になることが指摘される一方で、高齢者を「十分な期間、人生における適正な活動時間を享受した」と考え、一定年齢に達した高齢者への資源配分の重みを軽くすべき（Fair Innings Argument）という考え方もある。<sup>5)</sup>

### 3. 基準値をめぐる議論 - そもそも基準値は不可欠か？

「1QALYあたりどの程度までなら許容されるか？」の基準値についても、英国英国の国立医療技術評価機構（NICE: National Institute for Health and Care Excellence）のように、一応の基準（1QALYあたり2～3万ポンド）を明示している国はむしろ少数派であり、通常は閾値を明示しないことが多い。各国のHTA機関の「閾値」設定状況についてのシステマティック・レビューによれば、明示的に閾値を示しているHTA機関は英国NICEを除くとタイ・ポーランド・スロベニアの3カ国に限られる。<sup>6,7)</sup> またこれら3カ国の閾値の設定法は、基本的には国内総生産（GDP: Gross Domestic Product）や国民所得（NI: National Income）のような経済指標にリンクしており、日本で一時検討されていたような「支払意思額の調査を事前に行って、閾値を定めた」HTA機関は存在しない。経済指標にリンクさせるやり方、について、根拠としてよく引用されるのは世界保健機関（WHO: World Health Organization）（2002）の基準で、GDPの1倍よりも小さければ「Highly Cost-Effective」、1～3倍ならば「Cost-Effective」と定めている。<sup>8)</sup> もっとも、基準を3倍においた設定根拠は明確ではない。また、1QALY獲得当たりではなく障害調整生存年（DALY: Disability Adjusted Life Years）回避当たりのICERなので、厳密には異なる概念である。

後述のとおり、最も有名な閾値である英国NICEの「1QALYあたり2万から3万ポンド」も、科学的な根拠はない。さらにオーストラリアのHTA機関・PBAC（Pharmaceutical Benefits Advisory Committee）のように、「費用対効果のデータは多種多様な意思決定ツールのひとつであり、実際の推奨の可否は、他の治療法の有無や医療予算へのインパクト、疾患の重篤度などを総合的に判断して実施する」として、「閾値を設定しない」ことを明示する機関も存在する。費用対効果評価を価格調整に使っているフランスのHTA機関HAS（Haute Autorité de Santé）も、閾値に関しては「実際の評価例が十分に蓄積されたのちには帰納的な推計が可能だが、現段階で線引きはしない」としている。

閾値を明示的に設定している英国でも、実際の運用はやや柔軟になされている。NICEの設立当初から閾値が設定されていたわけではない<sup>9,10)</sup> 導入後の評価結果からおおよその目安として2～3万ポンドが推定され、その後公式のガイドラインにもこの値が「基準」として明示されたものである。<sup>11,12,13)</sup> しかし、現実の決定では、公称値（2～3万ポンド）が厳密に適用されているわけではなく、ICERが4万ポンド/QALYとなる医療サービスにおいてすら、約半数のサービスが給付されている<sup>14)</sup>。

英国NICEのシステムは、「健康な1年あたり3万ポンドを上回ったら給付されない。命に値段を付けている」と槍玉に挙げられるシステムであるが、NICEですら費用対効果以外の要素を吟味（アプレイザル・総合的評価）した上で結論を出しており、決して機械的に閾値をあてはめることはしない。

### 4. 費用対効果の枠組みの中での解決法は？ - 英国NICEの「敗者復活戦」

ここまで、QALYおよび1QALYあたりの基準値・閾値の流動性について述べてきた。評価の弾力性を保つために、英国NICEはさまざまな敗者復活ルール（費用対効果の評価軸をそのまま当てはめると給付が難しい技術について、さまざまな手段で給付の確保を図っていくルール）を整備している。

まずは、基準値そのものをほぼ明示的に引き上げるケースである。例えば終末期の患者を延命できる薬剤には、基準値を1QALYあたり50,000ポンドまで引き上げるルール（終末期特例）がある。多くのがん領域（血液腫瘍も含む）の薬剤が、この特例の適用を受けている。がん領域での実例はまだないものの、一部の超希少疾病の治療薬（Highly Specialized Technology）に対しては、基準値がさらに高い10万-30万ポンドまで引き上げられる。

続いて、国側の費用負担額を少なくすることで、費用対効果を改善する手法がある。費用対効果が悪い薬剤に関し、企業が値引きなどの提案をしつつ妥協点を見出す患者アクセススキーム（PAS: Patient Access Scheme）がある。多く

の高額な薬剤が、値引きや一定期間経過後は企業が薬剤費を負担するなど PAS の条件で合意した上で、給付を認められている。

「患者に早く薬を届ける」ことと、「医薬品の価値を正しく評価するために、真のアウトカムなど十分なエビデンスを要求する」流れは、どうしても矛盾する。このジレンマを緩和するルールとして Cancer Drug Funds (CDF) が用意されており、十分なデータがまだ揃っていない抗がん剤に対して、追加的なデータ収集と値引きを条件に、データが揃うまでの期間は特別な別建て予算で給付する。オブジーボ・キイトルーダ・イミフィンジ・キムリアなどの代表的な免疫治療薬も、上で紹介した敗者復活ルールをいくつか組み合わせると給付が認められている。あわせて、全員への投与が難しい場合に「どんな患者ならば効率的なのか？（例えば、PD-1 の陽性率など）」を考慮して、対象患者を絞り込む最適化 (optimize) もよく行われる。2010 年以降の NICE の評価結果 143 件をまとめたレビューによれば、最終決定でネガティブとなったのは 146 件中 23 件 (15.8%) なのに対し、仮決定では 84 件 (57.5%) がネガティブな評価を受けている。すなわち、84 件中 61 件 (72.6%) で評価が覆ったことになる。複数回の評価を行いつつ、「どんな条件ならば給付ができるのか？」を詳細に検討していることがうかがえる。

## 5. 費用対効果以外の価値の考慮 - アプレイザルの事例

先に述べたように、費用対効果の評価基準を QALY にすること自体は合意があるものの、“A QALY is a QALY is a QALY” の理念を忠実に適用するのは困難をとまなう。もっとも、「等価でないとするれば、誰の 1QALY を優先するのか？」さらに、優先するとしたときにその基準の定量化は可能なのか？」という問いかけに、答えを出すことは大変困難である。それゆえ、費用対効果「以外」の要素を定性的に考慮するアプレイザル（総合的評価）のプロセスが、実際の意思決定では非常に重要になる。実際にアプレイザルの場で組み込むべき「費用対効果以外の要素」は、HTA 機関によっても異なるが、英国の例では、以下の 5 つの要素が例示されている。① ICER (増分費用効果比) の不確実性の程度 (Degree Of Uncertainty)、②患者の QOL の変化を適切に測定できているか否か、③ QALY では十分に捕捉しきれないイノベーション (技術革新)、④「終末期特例」に該当するか否か、⑤健康面以外に公的医療制度にインパクトを与える要素があるか否か、の 5 点である。

4 番目の終末期特例は、先ほども触れたように、余命の短い患者を延命できる薬（一般的な基準としては、余命は 2 年未満、延命効果が 3 ヶ月以上に設定される）について 20,000 - 30,000 ポンドの基準値を 50,000 ポンドに引き上げるルールである。Rule of Rescue の概念に近い終末期の患者については、（少なくとも英国では）優先的に評価することについてのコンセンサスが得られたと考えられる。それ以外の要素、とくに③のイノベーションについては、イノベーション (innovative nature) そのものは認めているものの、「QALY もしくは Cost / QALY の軸で十分に捕捉しきれない」という条件を満たしていないとして対象外となる例が多い (“innovative nature” の言及がある 86 件のうち、55 件は対象外と認定)。たとえばイノベーションによって生命予後や QOL が著しく改善するならば、当然 QALY 増分も大きくなり、ICER は改善するであろう。また、イノベーションによって重篤な有害事象が減るならば、QOL の改善と治療費の削減が見込めるため、やはり ICER の改善につながる。Cost / QALY のものさしを当てた際に、費用にも効果にも影響しないが、誰もが “innovative” と認めるような医療技術は想像しがたい。仮にそのような技術があったとしても、公的医療において本来の健康への恩恵を上回る値打ちを付けることを正当化できるかどうかは、意見が分かれるところである。

超希少疾病に適応される “Highly Specialized Technology” ルールについても、明示的・黙示的にさまざまな要素が考慮されている。筆者らは、2019 年までに発表された 11 件の HST 評価に関するレビューを行った。<sup>15)</sup> イノベーションの大きさは 11 件中 8 件、介助する家族の負担軽減は 11 件中 7 件で明示的に考慮されており、残り 4 件でも一部の項で言及がある。遺伝性疾患の多い超希少疾病では、これまでの終末期特例の枠組みでの評価は難しく、適用例はなかった。「家族の負担軽減」に関しては、これまでも一部の薬剤で見られた介護に起因する生産性損失だけでなく、さまざまな形での定量評価が試みられている。例えば遺伝性網膜ジストロフィー（患者数はイングランド全体で 100 人未満）の治療薬ラクスターナの評価では、「子供に行動の制限がある場合、そうでない子供と比較して、『両親』の QOL 値が 0.08 低下する」というクルソーら (2010 年) の研究結果をもとに、疾患の進展による視機能の低下と介助者の QOL 値とを関連付けている。QOL 値の定量的な評価に加えて、「介助のために仕事を辞める・自宅を改造する負担の発生」「視力が維持されれば、社会活動に参加できる」のような要素を、「小児の視力を維持できることは、数値化できないメリットがある。この要素は意思決定の際に質的に考慮する」と言及し、ラクスターナの給付を推奨している。

希少疾病でも評価の対象からは除外せず、むしろ定性的・定量的さまざまな観点から費用対効果以外の要素を評価に組み込むスタイルは、希少疾病でも「オカネ」の話が不可避になりつつある現状では一定の意義がある。対象から除く、「そもそも評価をしない」ことは当座の批判はしのげるものの、国以外の利害関係者、とくに現場の医療従事者や世間からも価格についての説明責任が求められるようになった現代において、かえって安定性を欠くと考える。

## 6. 臨床的有用性の評価 フランスの例

広い意味での HTA は、いわゆる費用対効果のみならず、有効性や安全性など広い意味での「有用性」を含む。臨床的有用性をベースに価格や給付割合を決定している手法として、フランスの例を紹介したい。

フランスは費用対効果が償還の可否には用いられず、また ICER の値そのものは価格決定の際に直接関与しないため、「英国は償還の可否・フランスは価格調整」のように一義的に議論されることは少なくない。しかしその一方で、慢性疾患の薬剤などで医療上の利益 (SMR: Service Médical Rendu) 追加的な医療上の利益 (ASMR: Amélioration du Service Médical Rendu) の評価を下げられることで、自己負担割合を引き上げられたり、完全に非償還となった薬剤も少なくない。「費用対効果の償還の可否への使用」はなくても、「絶対的有用性に基づいた償還可能性の評価」がなされていることについては、留意が必要である。例えば 2006 年 3 月には、気管支拡張薬や感冒薬・生薬・胃腸薬など 282 品目が、まとめて保険から外されている。<sup>16)</sup> 2016 年には降圧剤オルメサルタンについて、「他の ARB はアンジオテンシン受容体拮抗薬 (Angiotensin II Receptor Blocker) に比較して有害事象のリスクは高いが、有効性に優れているエビデンスは存在しない」として、同じように保険から除外されている。2018 年には、認知症治療薬 4 製剤が除外され、大きな議論を呼んだ。認知症の 4 製剤は、2011 年段階で「有効性のエビデンスが限定的である一方で、安全性や忍容性については問題が大きい」とされ、国の負担割合を 15% まで下げられていた。その後 2016 年の再評価で、新たなエビデンスは見出されなかったとして、保険から外すことを勧告されたものである。

認知症のケースでも、他の薬剤のケースでも、重要なのは「臨床的な重要性」、さらに真のアウトカムの改善の有無のデータが、強く求められている点である。象徴的なケースとしては PCSK-9 阻害薬エボロクマブ・アリロクマブの例がある。英国の NICE ではどちらの薬剤も同じ評価 (家族性コレステロール血症の有無および心血管疾患のリスクにより給付の可否を判定) となったが、HAS の評価は「超高リスク」の患者にのみ給付を認めている。なおかつ「超高リスク患者」の定義は、両薬剤の長期予後 (心血管イベント抑制効果) に関する臨床試験の対象患者の定義 (エボロクマブ: Fourier 試験, アリロクマブ: ODESSAY 試験) をそのまま用いている。認知症薬のケースであれ脂質異常症のケースであれ、モデル分析に基づいた長期アウトカムの予測値をもとに意思決定を行っている NICE に比較すると、HAS のスタンスはより厳しいとも言える。

薬剤名	適応症
ペバシズマブ	乳がん (HER2 陰性 転移性乳がん)
インフリキシマブ	関節リウマチ (一次治療、他の抗リウマチ薬の使用経験なし)
アダリムマブ	関節リウマチ (一次治療、他の抗リウマチ薬の使用経験なし)
エタネルセプト	関節リウマチ (一次治療、他の抗リウマチ薬の使用経験なし)
ソマトロピン	成長ホルモン分泌障害 (成人)
タクロリムス水和物	アトピー性皮膚炎
メマンチン塩酸塩	認知症
アダリムマブ	ぶどう膜炎
デノスマブ	骨転移の前立腺がん
ミラベグロン	過活動膀胱
ロスバスタチンカルシウム	脂質異常症
シタグリブチン	糖尿病
テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム配合剤	

表 1. フランスで SMR "insuffisant" と評価された薬剤

表 1. は、日本で 2016 年度の売上上位 50 品目のうち、フランスで SMR 評価 "insuffisant" となったケースを示す。まとめて保険から外されたメマンチン以外の認知症薬も含めると、非給付薬全体での市場規模は 3,000 億円を超える。広汎な薬剤領域について、臨床的な観点からの有用性で給付の優先順位付けを行うフランスの評価手法は、単に「費用対効果を価格に用いる」という文脈を超えて、より広い視点からの再定義が必要と考える。

## 7. 多面的な価値 (value) の評価軸とは？ ISPOR Task force のレポートから

もともと医薬品の価値 (value) は、多面的な要素からなるものである。これまで見てきたように、一般的には「画的に費用対効果のみで判断する」と捉えられがちな英国でも、定性的・定量的にさまざまな要素を評価に組み込んでいる。多次元の価値としてどのような評価軸をとりうるかについては複数の研究があるが、ここでは国際医薬経済・アウトカム研究学会 (ISPOR) Task force のレポートを紹介したい。<sup>17)</sup>

要素	概要
QALY gained (獲得 QALY)	費用対効果評価で一般的に使われるものさし。生存年数を健康状態 (1点満点の QOL 値) で重み付けして求める。10年間を QOL 値 0.3 の状態で過ごしたら、 $10 \times 0.3 = 3\text{QALY}$ となる。「生存年数」と「健康寿命」の中間的な概念。
Net costs (総費用)	新たな医療技術の導入によって増えるコスト (薬剤費など) と、将来削減できるコスト (合併症の医療費など) の差額で計算。総費用が増えたとしても、それに見合った価値 (= 効き目の改善) があれば、医療経済的にも妥当とされる。
Productivity (労働生産性)	病気に伴って仕事を休む・辞める 損失 (アブセンティーズム) と、仕事がかどらない損失 (プレゼンティーズム) とに大別される。小児や高齢者の疾患では介助者の損失を組み込む場合もある。
Adherence-improving factors (アドヒアランス向上)	薬のアドヒアランスが向上すれば、短期的には「服用量が増える」ことでコストが増える。しかし長期的には、治療効果の改善を通して、効き目の改善や医療費削減も見込める。
Reduction in uncertainty (不確実性の減少)	治療が効きやすい人と効きにくい人、副作用が起こりやすい人と起こりにくい人とをあらかじめ遺伝子検査などで切り分けられれば、費用対効果は改善する。
Fear of contagion (感染に対する畏怖)	予防接種の接種率が上がると、接種者以外の発症率も減少する (集団免疫)。「Fear of contagion」は集団免疫のみならず、パンデミック時などに「感染症そのものへの恐怖」が和らぐ効果も含む。
Insurance value (保険の価値)	新しい治療が疾患の健康影響を軽減することで、疾患を怖がらなくて済む "Physical risk protection" と、より広汎な疾患の治療費を担保できる "Financial risk protection" からなる。
Severity of disease (病気の重篤度)	同じ「+ 1QALY」を得られる治療でも、より重篤な患者への治療や、終末期の患者への治療は、それ以外の治療よりも高い価値があると考えられる。
Value of Hope (希望そのものの価値)	たとえわずかな可能性であっても、治癒など大きな改善が見込める治療には、期待値では評価しきれない価値がある。
Real Option value (リアルオプション)	ある治療によって余命を延ばすことができれば、「生きている間」にさらに革新的な治療が開発される可能性が上昇する。
Equity (公平性)	貧富に関わらず、一定水準の医療を受ける権利は保障されるべきである。
Scientific spillover (科学的波及効果)	革新的な治療薬が開発されることは、次世代のさらなるイノベーションにもつながる。

表 2. ISPOR レポートによる Value の 12 の構成要素

ISPOR レポートが提唱する Value は、12 の構成要素からなる。構成要素の中身と概説は、表 2. に示すとおりである。12 の評価軸について、「基本的な要素・やや拡張的な要素・潜在的な要素」の 3 区分と、「保険者の立場から組み入れ可能・社会の立場ならば組み込み可能」の 2 区分で分類される。

総費用および獲得 QALY は、どのような状況下でも Value の構成要素として考慮される。やや拡張的な要素としてあげられる生産性損失も同様に、とくに疾病費用研究などにおいては重要な要素である。ただ、殊に介入の評価をする場合には、就業可能性 (高齢者などでは、すでに退職している)・復職可能性 (治療が奏効しても、仕事に復帰できる可能性が低いこともある) など、さまざまな要因が影響するため、生産性損失の組み込みによって結果が改善するケースは限定されることには注意が必要である。廣實らのレビューでは、オランダの HTA 機関において 2007 年から 2017 年

8月までに評価された394件の結果を解析している。<sup>18)</sup> 394件のうち評価結果に「生産性損失」の文言が含まれていた医薬品が64件(16%)、さらにその中で実際に生産性損失を組み込んで分析していたのが23件(5.8%)にとどまった。またワクチンその他の予防介入については、疾患罹患にともなう生産性損失(罹病損失)を組み入れるならば、接種を受ける際の生産性損失も組み込むのが妥当な分析手法である。症状のやや軽い疾患については、仕事を休むアブゼンティイズム(Absenteeism)のみならず、就業していても仕事のパフォーマンスが低下するプレゼンティイズム(Presenteeism)の考慮が重要となり、Presenteeismを含んだ生産性損失を測定した市販後臨床研究の例もある。ただし、とくにpresenteeismを含む場合、病気に罹患していない人でもある程度の損失が発生することには注意すべきである。

不確実性の減少(Reduction in uncertainty)以降の項目は、これまでの評価では組み込まれた事例は数少ない。もっとも、Cancer Drugs Fundsに代表されるような「いったん給付を認め、エビデンスが出そろった段階で再評価する」制度や、患者アクセススキームの一部に見られる成果報酬型(有効な患者にのみ保険者が支払、無効例は企業が負担)制度、さらに全員を非給付にするのではなく、一部の患者に給付を認めるOptimization(最適化)は、不確実性の減少をある程度価値として評価しているとも考えられる。また、病気の重篤度(Severity of diseases)や公平性(Equity)は、これまで述べてきた終末期特例などの手法で、一定程度定量的に評価に組み込まれている。その他の要素については、個別の品目の評価に活用された例はないものの、これらの要素のインパクトを定性的・定量的に評価した研究は散見される。

## 8. 今後の日本への展開 - 可視化された「資源配分の適正化」の時代へ

日本の保険システムは、「承認されれば、そのまま保険給付が認められる」体制が半世紀以上にわたって維持されてきた。しかし高額薬剤の登場以降、医療システムを維持するために、諸外国のように保険給付にある程度の濃淡をつけることも選択肢として議論されている。健保連から毎年提案されてきた一部の軽医療を保険適用外とする提言は、2018年まで(湿布薬・うがい薬など)は世論への影響は限定的であった。しかし2019年の「OTCで同一成分のある花粉症薬」は、一般メディアも含めて広く取り上げられた。きわめて限定的な領域とはいえ「保険給付の可否」まで踏み込んだ議論がなされたことには大きな意義がある。給付にメリハリをつける議論は、これまでのような議論すること自体を絶対のタブー視する段階ではなく、「どのような領域が対象にすべきなのか? 基準はどこに置くか?」「外された技術を、医療制度の中でどのように位置付けていくか?」「患者アクセススキームのような救済措置を、日本のシステムの中でどのように整備していくか?」のような、より具体的な課題を洗い出す時期になったと考える。

承認のために必要なデータ水準と、世の中で実際に使われるために要求されるデータ水準は、もともと異なる概念である。「世の中で実際に使われるため」は、単なる保険給付の可否だけでなく、実際に臨床の場で使われるかどうかまでも含んだ概念である。フランスの例などから伺えるのは、実際の臨床の場で使われるためには、承認よりもさらに「踏み込んだ」レベルのデータが要求されつつある流れである。どのようなデータが「踏み込んだ」ものとして要求されるかは、個別のケースによって変わりうる。臨床試験の対象集団と実臨床の患者集団の特性が異なっていれば、実臨床での有効性データが必要となる。治験の評価項目が代理のエンドポイントや、短期の治療効果に限定されていれば、真のアウトカムに関する長期のデータが求められる。治験がプラセボ対照もしくは単群試験で実施されていれば、既存の薬との相対的・追加的有用性のデータが求められる。もちろん高額(あるいは、財政影響の大きな)な薬剤であれば、効率性や費用対効果のデータが重要になる。

上市後にさまざまな形で生じてくる追加的なデータのニーズに対し、治験段階からすべての可能性を考慮して予めデータを得ることは、金銭的にも時間的にも非現実的である。そのため、実臨床(リアルワールド)でのデータが果たすべき役割は、治験を完全に置きかえるものではないにせよ、今後さらに大きくなっていく。現状、レセプトデータの活用可能性が議論されているが、レセプトに限らず、観察研究や患者登録まで含めた広い意味でのリアルワールドデータについて、個人情報に十分配慮した形での整備が望まれる。

「限りある医療資源の適正配分」という医療経済学の原則は、これまで金銭的な側面のみで理解されることが多かった。それゆえ、「自己負担や保険料を上げる」「他の領域の無駄を省く」のような対策が主眼となり、供給の最適化に関する議論に行き着かないこともあった。2020年初頭の新型コロナウイルス感染症は、諸外国(そして日本でも)において、感染症の専門病棟や人工呼吸器の不足が生じさせ、「医療崩壊」という言葉を現実の危機として報じさせるに至った。英国では医療機関や医療スタッフなどの物理的な医療資源の供給を絶やさないために、既存の疾患で治療中の患者に対して「医療の質を保ちつつ、患者や医療従事者の感染リスクを最小化する」ためのガイドラインが発行されている。通院頻度が少ないこと・短い期間で治療が終了することは、これまでは患者側の負担減少のみで捉えられてきた。しかし感染症の脅威の中では、医療者側にもメリットがあることとして認識されつつあり、実際ガイドライン内でも言及がある。

医療資源が有限であることが可視化された現在、技術の価値を正しく計量し、正しく評価していくことは不可欠である。もっとも、やみくもに評価軸を拡大しても、さまざまなステークホルダーの理解を得ることは難しい。英国におけるラクスターナの評価事例（家族のQOL低下を組み込む）に見られるように、今までなかった軸を評価に加えていく際には、幅を広げていく根拠を整備することが重要になる。すべての技術に関して、一気に価値評価の軸を広げることは非現実的であろう。定量的であれば格別、最低限定性的な研究を進めることが、多面的な価値を認めるために必須である。

多数あり得る評価軸を一朝一夕に確立することは現実的ではないし、そもそも定量評価が不可能な軸も多数存在する。評価軸をやみくもに増やして行くのみならず、定量的・あるいは定性的に評価が可能かについて、実証的な研究を進めていく必要がある。

- 1) Milton C Weinstein, "A QALY Is a QALY Is a QALY - Or Is It?" *Journal of Health Economics*, Volume 7 (1988): 289-290
- 2) Albert R Jonsen, "Bentham in a Box: Technology Assessment and Health Care Allocation," *Law, Medicine & Healthcare* (1986): 172-174
- 3) David C Hadorn, "Setting Health Care Priorities in Oregon. Cost-effectiveness Meets the Rule of Rescue," *JAMA*, Volume 265 Issue 17 (1991): 2218-2225
- 4) John Harris, "Double jeopardy and the veil of ignorance - a reply," *Journal of Medical Ethics*, Volume 21 (1995): 151-157
- 5) Anthony Farrant, "The fair innings argument and increasing life spans," *Journal of Medical Ethics*, Volume 35, Issue 1 (2009): 53-56
- 6) Ruth Schwarzer, Ursula Rochau, Kim Saverno, et al. "Systematic overview of cost-effectiveness thresholds in ten countries across four continents," *Journal of Comparative Effectiveness Research*, Volume 4, Issue 5 (2015):485-504
- 7) Jana Skoupa, Lieven Annemans, Petr Hájek, "Health Economic Data Requirements and Availability in the European Union: Results of a Survey Among 10 European Countries," *Value in Health Regional Issues*, Volume 4 (2014): 53-57
- 8) World Health Organization, "The world health report 2002: reducing risks, promoting healthy life," World Health Organization, (2002)
- 9) Adrian Towse, Clive Pritchard, Nancy Devlin, "Cost-Effectiveness Thresholds: Economic and ethical issues," *OHE and the King's Fund* (2002)
- 10) Nancy Devlin, David Parkin, "Does NICE have a cost-effectiveness threshold and what other factors influence its decisions? A binary choice analysis," *Health Economics*, Volume 13 (2004): 437-452
- 11) National Institute for Health and Clinical Excellence, "The guidelines manual," National Institute for Health and Clinical Excellence (2004)
- 12) National Institute for Health and Clinical Excellence, "The guidelines manual," National Institute for Health and Clinical Excellence (2009)
- 13) National Institute for Health and Clinical Excellence, "The guidelines manual," National Institute for Health and Clinical Excellence (2012)
- 14) Helen Dakin, Nancy Devlin, Yan Feng, et al. "The Influence of Cost - Effectiveness and Other Factors on Nice Decisions," *Health Economics*, Volume 24, Issue 10 (2015) 1256-1271
- 15) 中野陽介、五十嵐中、「英国 NICE の評価から見る医薬品の価値の多面性 - 希少・難治性疾患用薬の分析から -」政策研ニュース、59号 (2020) : 47-51
- 16) Sylvain Pichetti, Catherine Sermet, "Analysis of the Impact of Drug Delisting in France between 2002 and 2011," *Questions d'economie de la Sante*, Volume 167 (2011)
- 17) Darius N Lakdawalla 1, Jalpa A Doshi 2, Louis P Garrison Jr, et al. "Defining Elements of Value in Health Care-A Health Economics Approach: An ISPOR Special Task Force Report," *Value Health*. Volume 21, Issue 2 (2018): 131-139
- 18) 廣實万里子、五十嵐中、「日本における費用対効果評価の導入と課題：海外事例から示唆されること」政策研ニュース、53号 (2018) : 10-16



## おわりに

報告書を作成するにあたり、タスクフォースによる6回の議論、外部有識者を招いたうえでの専門家フォーラム、そして専門家ラウンドテーブルを2回、下記のとおり実施した。

### <タスクフォース>

2019年10月16日

第1回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：支出の効率性を高める取組

2019年11月18日

第2回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：研究開発にかかる経費を効率的に管理するとともに、市場アクセスを改善する取組

2019年12月12日

第3回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：イノベーションのさらなる促進のためのプッシュ型およびプル型インセンティブの開発・普及

2020年01月16日

第4回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：より良い政策討議のための情報基盤／データ基盤の強化

2020年02月17日

第5回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：医療システムを支える財源や支払いメカニズム

2020年03月16日

第6回「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」タスクフォース会合：バリューベース・ヘルスケアの考え方と手法

### <専門家フォーラム>

2019年11月5日 専門家フォーラム

「社会保障を問い直す：これからの公的医療サービスの給付と負担の在り方～マルチステークホルダーが目指す国民皆保険制度～」

### <専門家ラウンドテーブル>

2020年06月02日 専門家ラウンドテーブル

第1回「優れた医療へのアクセスを維持して無駄を削減するための取組」

2020年06月04日 専門家ラウンドテーブル

第2回「これからの国民の健康づくりのために求められる投資」

上記の議論を通して、本報告書の冒頭に記載させていただいた「医療システム改革のためのグランド・コンセプト～人生100年時代にふさわしい健康長寿社会をつくる医療システム～」を取りまとめた。

本報告書が、今後の日本の医療政策立案の一助になることを期待する。

## 日本医療政策機構について

日本医療政策機構（HGPI: Health and Global Policy Institute）は、2004年に設立された非営利、独立、超党派の民間の医療政策シンクタンクです。市民主体の医療政策を実現すべく、中立的なシンクタンクとして、幅広いステークホルダーを結集し、社会に政策の選択肢を提供してまいります。特定の政党、団体の立場にとらわれず、独立性を堅持し、フェアで健やかな社会を実現するために、将来を見据えた幅広い観点から、新しいアイデアや価値観を提供し、グローバルな視点で社会にインパクトを与え、変革を促す原動力となることを目指しています。

## 日本医療政策機構 寄附・助成の受領に関する指針

日本医療政策機構は、非営利・独立・超党派の民間シンクタンクとして、寄附・助成の受領に関する下記の指針に則り活動しています。

### ミッションへの賛同

当機構は「フェアで健やかな社会を実現するために、新しいアイデアや価値観を提供し、グローバルな視点で社会にインパクトを与え、変革を促す原動力となる」ことをミッションとしています。当機構の活動は、このミッションに賛同していただける団体・個人からのご支援で支えられています。

### 政治的独立性

当機構は、政府から独立した民間の非営利活動法人です。また当機構は、政党その他、政治活動を主目的とする団体からはご支援をいたしません。

### 事業の計画・実施の独立性

当機構は、多様な関係者から幅広い意見を収集した上で、事業の方向性や内容を独自に決定します。ご支援者の意見を求めることがありますが、それらのご意見を活動に反映するか否かは、当機構が主体的に判断します。

### 資金源の多様性

当機構は、独立性を担保すべく、事業運営に必要な資金を、多様な財団、企業、個人等から幅広く調達します。また、各部門ないし個別事業の活動のための資金を、複数の提供元から調達することを原則とします。

### 販売促進活動等の排除

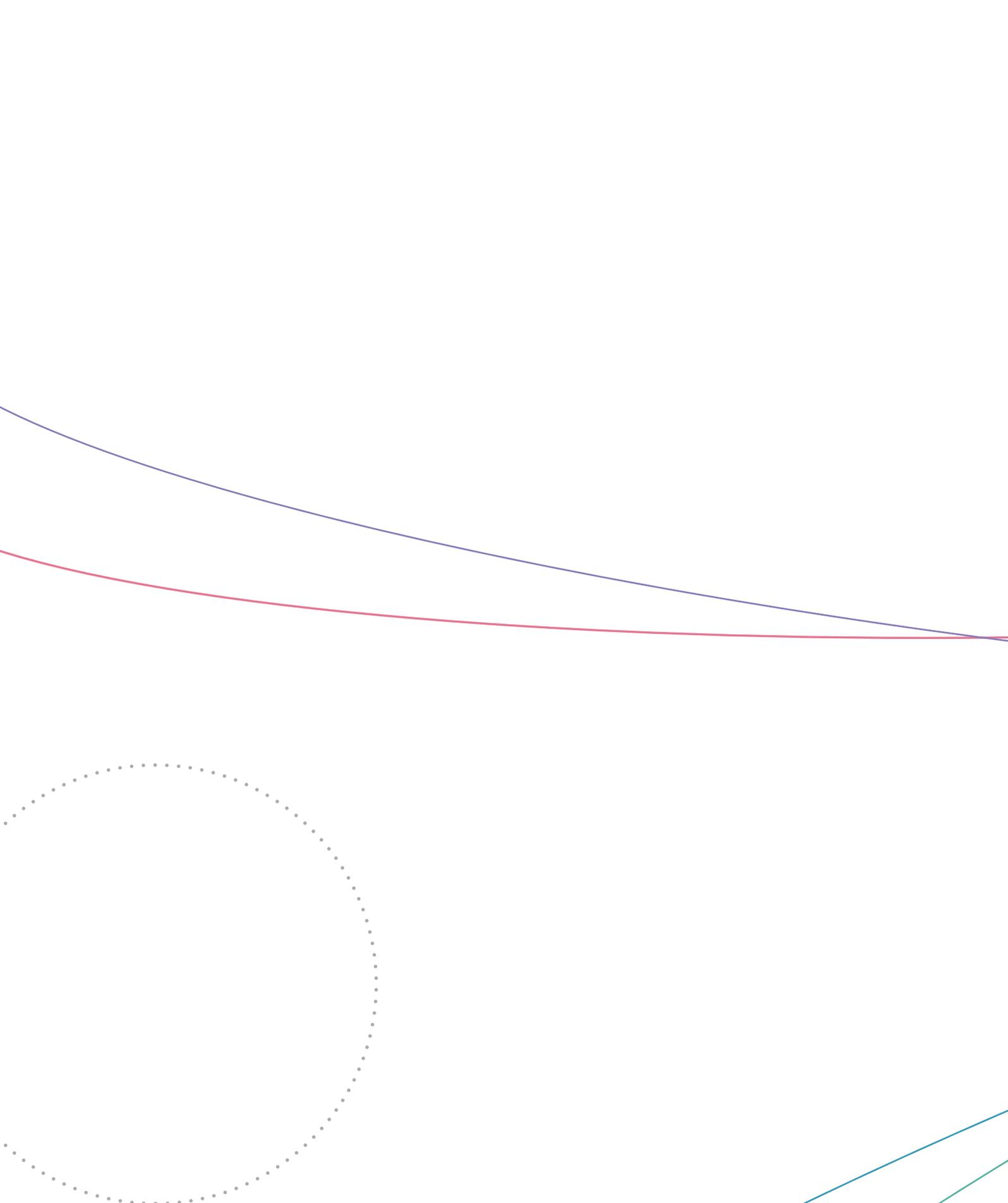
当機構は、ご支援者の製品・サービス等の販売促進、または認知度やイメージの向上を主目的とする活動は行いません。

### 書面による同意

以上を遵守するため、当機構は、ご支援いただく団体には、上記の趣旨に書面をもってご同意いただきます。



協賛：ギリアド・サイエンシズ株式会社  
ファイザー株式会社  
ヤンセンファーマ株式会社（五十音順）



**特定非営利活動法人 日本医療政策機構**

〒100-0004 東京都千代田区大手町 1-9-2 大手町フィナンシャルシティ グランキューブ 3階

Global Business Hub Tokyo

Tel: 03-4243-7156 Fax: 03-4243-7378 E-mail: [info@hgpi.org](mailto:info@hgpi.org)

本レポートの著作権は、日本医療政策機構が保有します。