

第2回 HTA(Health Technology Assessment)プログラム医療経済塾報告

【主催】慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科 HTA 人材育成プログラム

はじめに

2025 年 1 月に第 1 回 HTA プログラム医療経済塾を実施し、日本における医療経済評価制度に至るまでの海外および日本の当該領域の変遷を振り返った。歴史の変遷から内在する課題や現在の日本における医療経済評価制度の課題について、第 1 回医療経済塾とは異なる視点で議論することを目的とし、2026 年 2 月 27 日から 28 日にわたり慶應義塾大学日吉キャンパスにおいて約 20 名の関係者で議論をした。本稿ではその主な内容を報告する。

方法

第 1 回医療経済塾において QALY (Quality-adjusted Life Year) ベースの議論に不可欠な QOL (Quality of Life)、公平性について医療と経済の視点で議論を深め、日本の費用対効果評価制度をはじめとする課題があげられた。第 2 回医療経済塾では、第 1 回医療経済塾での議論を受け、以下の 3 ステップでさらなる議論を進めた。

1. 医療経済評価の理論的限界と現実解への認識について、基本となる知識や課題を再確認した。
2. 日本における医療経済評価の歴史をたどり、日本の医療制度、特に診療報酬制度の制度設計や医療経済との関わりについて理解を深めた。
3. 1,2 を共通認識とし、現行の費用対効果評価制度の課題を抽出しグループディスカッションを実施した。

内容

1. 医療経済評価の基礎論－理論的限界と現実解への認識

第 1 日目 (2/27) には、鎌江伊三夫先生から医療経済評価の基礎について講義いただいた。

日本では医療経済評価の一部である費用効果分析を薬価調整に使用していることをレギュラトリーサイエンスの視点から解説された。レギュラトリーサイエンスとは根拠に基づいた確かな予測、評価 (Be, 実証分析)、判断を行い科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整 (Should, 規範分析) するための科学である。医療経済評価は ICER (Incremental Cost Effectiveness Ratio) という数値を算出する点では実証分析に見えるが、実際には償還可否や薬価調整といった意思決定を導く規範分析を含んでおり、純粋な自然科学とは異なる座標系にあると考えられる。事実を追う従来の医学研究と異なり、医療経済

評価はモデルを用いて社会はどうあるべきかを考える。

医療経済評価等を巡る議論では、「理論的に正しくない」「科学的ではない」といった批判がしばしば見られるが、前提や価値基準が曖昧であることが多い。批判的思考をする際には、根本となる知識体系、座標系が必要である。その座標系を理解せずに、臨床試験と同様に頻度論的・帰納的推論の基準で批判することは、議論のすれ違いを生む。また、厚生経済学におけるピグーとロビンスの対立のように、「国民の厚生を高める」という目的自体も、どの理論体系に立つかで評価軸が大きく異なる。

費用効果分析に基づく中医協での薬価調整手法は、理論的には必ずしも正しいとは言えない。したがって、規範分析に基づいた公共政策として正当化されるためには、一定の条件が容認される制度でなければならない。そのためには、理論と現実解の解離を認識したうえで、結論の絶対性よりも、意思決定に至るまでの公平なプロセスを重視し、訂正プロセスを繰り返していくことで、より適切な政策の実現を目指すことが重要である。

2. 日本における医療経済評価の歴史

第2日目(2/28)は池上直己先生から、日本における医療経済、医療政策、薬剤経済学の歴史的な展開について、先生ご自身の著書の内容に触れながら講義いただいた。

「臨床経済研究会」は医療経済分野の先導者の一人である徳島大学久繁先生が中心となって1988年に発足し、臨床に関わる経済学ということから賛助会員として製薬会社が加わり始まった。「臨床研究」は課題解決に軸足を置いているのに対して、「経済研究」は理論モデルの検証が課題であるため、両者の接点はないといってもよい。前者はISPOR(International Society for Pharmacoeconomics and Outcome Research)日本部会へと発展した。

一方で、「経済研究」は「医療経済研究」という学会誌が刊行されているが、そのルーツは厚生労働省から政策研究を目的に創設された“医療経済研究機構”によって創刊されている。医療経済研究機構は政策研究をするための部門と学会誌(主に経済学者が中心となった経済理論に基づくもの)を担当する部門があるが、薬剤経済にはあまり関与していない。

次に、池上先生が著者となられた論文についての紹介がなされた。冒頭、薬価は毎年下がるにも関わらず薬剤費が減らない理由について、より良い薬が現れ、それには高い薬価がつくので全体としての薬剤費は減らないことに触れられた。

次に、著作の解説があり、Ikegami,1985¹⁾では、医療はGemeinschaft(相互扶助的)であり、そのため効率性という視点だけでは分析できないことを説いた。次に、Ikegami,1986²⁾において、医療資源を公平に配分する必要があるとしても、有効でなければ配分の必要はない、したがって、医療の有効性を検証した上で保険に採用するか否かが重要である。Ikegami,1988³⁾は、医療サービスの有効性が検証されて始めて効率性を検証できるが、社会への受け入れや他の資源の配分に与える影響も重要である。診療報酬はこうした検証を行

ったうえで、点数によって価格のみならず、請求要件によって量（回数）も統制していることが、Ikegami,1991⁴⁾で述べている。

これらの研究は、皆保険を目指す台湾やクリントン政権下のアメリカでも関心を呼び、国際会議に招集された。一方、イギリス製薬協内にある Office of Health Economics の Policy Board の member に任命され、またペンシルベニア大学ウォートン校の Comparative Healthcare systems Department の訪問教授として招聘された。

一方、介護の領域においては、ナースিংホームに各入所者に発生する費用に基づいて、Medicaid の支払額を規定するための入所者の分類式を開発した Brant E. Fries⁵⁾と一しょに日本における支払いのための入所者の分類方式を開発した。

さらに Ikegami,1995⁶⁾において、国は日本においてもイギリスの GP (Primary care) 制度に倣った制度の導入を図っているが、導入できる可能性について、日本における町医者、明治以降、西欧医学に置き換わった経緯を踏まえて論にまとめた。

次に、Ikegami,1997⁷⁾は、日本の医療費抑制政策の大きな課題である薬剤の「価格引き下げ」が、技術の高度化・新薬選好によって相殺されている構造を、レセプトデータの分析によって示した。さらに Ikegami,1998⁸⁾で、“薬価は下がり続けているのに、日本の医療費（特に外来費用）はなぜ増え続けるのか”という疑問に対して、薬剤費の増加は“価格”ではなく、“量”と“新薬へのシフト”によって生じていることを示した。

さらに Ikegami,2006⁹⁾では、混合診療が認められる差額ベッド等以外の対象として、「先進医療」の形で妥協がされた。このように医療政策における意思決定は、必ずしも合理性だけでなく政治的力学で決まっている。

こうした実態を、Ikegami,2011¹⁰⁾は、武見敬三氏と協業して Lancet で日本の医療制度に関する特集号でまとめた。一方、Ikegami,2014¹¹⁾の世界銀行発刊の日本の医療制度について特集を刊行した。

さらに Ikegami,2023¹²⁾では、日本における急速な高齢化にも関わらず医療や介護費用が抑制できている仕組みを、レセプトの“査定”のプロセスに焦点を置いて解説した。査定が実施できるのは、診療報酬が各診療行為の点数（価格）だけではなく、請求要件によって回数（量）も規定しているからである。ちなみに薬剤の償還は、各薬剤の効能効果の範囲であり、その範囲以外に医師が処方すれば査定され、不払いとなる。これに対して、米国では off label prescribing は認められており、医師が臨床経験に基づいて有効と判断すれば請求できる。



3. 主要課題と検討

現行の薬価調整で使われている費用対効果評価制度の2つの課題について、参加者を2つのグループに分けて議論をした。課題1は“費用対効果評価制度の活用について”、課題2は“どのように「患者さんの声」を意思決定プロセスの中に組み込んでいくか”となり、それぞれについて報告する。

3-1. 課題① 費用対効果評価制度の活用について

日本の制度では、主に新薬の薬価調整、特に革新的医薬品の価格の上げ下げに限定的に用いられている点を大きな問題認識として共有された。このような限定的運用では、費用対効果評価がもつ潜在的な可能性を十分活かすきれておらず、むしろ重要な領域を取りこぼしているのではないかという指摘がなされ、こうした問題意識のもと「対象品目の拡大」「評価結果の反映方法」「費用対効果評価を実施するタイミング」「制度的課題」について議論をした。

・対象品目の拡大

現状では新規収載品に偏っているが、むしろ長期収載品や後発医薬品、あるいは同一作用機序で後から参入する薬剤などに対してこそ制度を適用すべきとの意見が示された。さらに、医薬品・医療機器等に限らず、いわゆる Low value care と呼ばれる健康改善効果が乏しいと考えられる医療行為（例：多剤処方や不必要な処置）にも対象を広げることで、より実質的な資源配分の最適化が可能となるという意見もあった。制度の対象を広げることで、費用対効果評価が医療全体の効率性を高めるツールになる可能性が共有された。

・評価結果の反映方法

現在は費用対効果に基づく価格の再調整が主な手段であるが、より多様な政策手段を組み合わせることで、新たな展望が開けるとされた。具体的には、保険適用の可否判断への活用、費用対効果の悪いサブグループの適用除外、保険外併用の導入、さらには適正使用推進ガイドラインによる推奨・非推奨の区分などが提案された。また、価格だけでなく使用量を制御する、いわゆるボリュームコントロールの発想も重要であるとされた。一方で、費用効果分析で用いられる ICER は不確実性を伴う指標であり、その点推定値をもって画一的に意思決定を行うことへの慎重な姿勢が必要であることも指摘された。

・費用対効果評価を実施するタイミング

現状では保険収載時に評価が行われているが、これでは意思決定に十分な情報が揃っていない場合も多い。そのため、治験段階からデータ収集を行い、早期に費用対効果进行评估することで、開発継続の可否判断にも活用できるのではないかと意見が示された。また、収載後一定期間が経過しエビデンスが蓄積された段階（例えば5年後、10年後）で再評価を行うことの重要性も強調された。医療技術の価値は時間とともに変化し、サブグループごとの効果差も明らかになるため、ライフサイクル全体を通じた評価が必要であるという意見があった。

・制度的課題

薬事承認（有効性・安全性）と費用対効果評価制度（主に経済性評価）の連携について、現在は PMDA による承認審査と、その後の薬価・費用対効果評価が独立している。これは行政の縦割り構造に起因するとされ、開発初期から臨床評価と経済評価を統合的に検討する必要性が議論された。欧州では承認と償還の連携が進んでおり、開発段階から HTA 的視点を取り入れる仕組みが整っているのに対し、日本はまだ過渡期にあるとの認識で一致した。

制度的手段として「最適使用推進ガイドライン」について、これは製造販売業者が申請し、PMDA と学会の共同レビューを通して作成されるもので、診療ガイドラインよりも一定の強制力を持つものであり、費用対効果を踏まえた適正使用の促進に活用できると考えられる。特に、償還そのものを制限するのではなく、推奨・非推奨といった形で臨床現場の意思決定に影響を与える可能性があり、柔軟な資源配分手段として期待される。もっとも、費用対効果のみで一律に推奨可否を決めることの限界も認識されており、有効性・安全性等とのバランスを踏まえた運用が必要とされた。

その他、精神科領域の多剤処方問題について、Low value care の一つの具体例として取り上げられ、その評価の難しさも浮き彫りになった。精神科領域での多剤併用は一般に有効性の向上が乏しく副作用の増加が懸念されるものの、厳密な比較試験が少なく、アウトカムの定量評価が困難である。そのため、このような領域では費用対効果評価制度による精緻な評価よりも、診療報酬の調整など別の政策手段の方が実効性を持つ場合もあると指摘された。費用対効果評価制度単独ではなく複数の制度を組み合わせる必要性が示された。

また、費用対効果に関する理解不足も重要な課題として挙げられた。医師や患者は薬剤費や自己負担には敏感であるものの、ICER など HTA の概念については十分に理解されていない場合が多い。特にがん領域では「経済毒性」が注目されているが、生存期間と費用を統合的に評価するという HTA の考え方とは必ずしも一致していない。このため、今後は費用対効果の概念を広く浸透させるための教育・啓発が不可欠であるとされた。以上を踏まえ、日本の費用対効果評価制度は、現在の価格調整に偏重した限定的な運用から脱却することで、医療技術のライフサイクル全体を通じて資源配分の最適化を図る包括的な政策ツールへと進化する可能性があるとして改めて認識された。そのためには、対象範囲の拡大、結果反映手段の多様化、評価タイミングの再設計、さらには薬事承認との統合や現場への浸透など、検討すべき課題は多いが、制度全体の再構築に向けて多角的な議論が引き続き必要であるとされた。

3-2. 課題② どのように「患者さんの声」を意思決定プロセスの中に組み込んでいくか

「患者さんの声」を重視すべきという意見が高まってきている現状において、「患者さんの声」が医薬品の価値を体現する際に十分反映されていないのではないかという問題意識のもと、より良い形で医薬品の評価がなされるためには、「患者さんの声」を「どのように評価に組み込むか」と「どのように意思決定において活用するか」、という2つの観点から議論を進めた。

ここで用いる「患者さんの声」は、患者アウトカムとして測定可能な死亡率や OS (Overall Survival)、QOL などではなく、今まで評価の中に組み込まれていない、特に定量化が困難な要素(患者さん本人やご家族などが、病気や治療、日々の生活の中で感じている困りごと、希望、価値観、治療に対する考えなどを表すもの)を念頭に置くこととした。

・どのように「患者さんの声」を評価に組み込むか

「患者さんの声」を評価の中に組み入れることの重要性については、議論を通じて共通認識を得ることができたものの、現行の日本の制度では、「患者さんの声」を薬価算定や費用対効果評価の枠組みに直接反映させることは難しいのではないか、という結論に至った。現時点で存在している「患者さんの声」には、主として PRO (Patient Reported Outcome) や QOL など、患者の状況を数値化できる評価基準と、患者さんの声を含めて、定量化は出来ないものの患者さんの思いや考えを体現できる評価基準に分類できる。

定量化できない評価基準の活用を考えた場合、いくつかの課題が存在する。まず、日本以外で実施されている医療技術評価において、患者さんがその薬剤の重要性等について自らの体験をもとに陳述する機会を設けている事例もあるが、その場合の代表性をどのように考えるか、という課題がある。また、認知症などの場合には、「患者さんの声」だけでなく介護者、家族や医療者の声を反映させることが重要であり、これらの声をどのように評価に組み込むか、という点も重要なポイントである。

また、投与方法を注射剤から経口剤に変えたことで生じる利便性の向上や、徐放技術などを用いた投与間隔の延長などのイノベーションに対する患者体験をどのように数値化し、評価に組み込んでいくか、ということも難しい課題である。特に医薬品の場合には、利便性の向上は薬価算定時に有用性加算が適用される要件の一要素として設定されているが、利便性の向上は QOL に必ずしも直結しない事例がある。結果として、費用対効果評価によって加算調整がなされる際に、利便性の向上が QOL に必ずしも直結しないことが多いため、費用対効果評価において、この点を的確に反映させることは困難と考えられる。

数値化することが困難なこれらの要素を費用対効果評価において反映させる方法としては、イノベーションの評価に基づく有用性系加算の適用がなされた品目については ICER を X%緩和する、といった閾値の調整によって対応する方法などが挙げられる。

一部の診療科においては、以前から臨床試験において、エントリー時に患者アウトカムの結果が適切に評価されていないのではないかという懸念があり、このバイアスを払拭するために中央評価方式が採用されるようになってきている。また、患者による自己評価を用い

る場合には、患者間で評価の差異が生じる可能性を考慮する必要もある。そして、全ての患者アウトカムの結果は臨床結果と相関するとは限らず、相関しない評価が示された場合には、その結果の解釈が困難となる事例もある。このように、患者アウトカムの評価の活用にあたっては一定程度の限界が存在しているが、今後の方向性としては、制度全体を一気に変えることを目指すのではなく、セカンダリーのエンドポイントの一つに患者アウトカムを組み込む試験デザインとするなどの取り組みを通じて、プライマリーエンドポイントとの相関を示すなどの工夫を加える必要もあると考えられる。

費用対効果評価を実施する際に考慮すべき立場として、現在の分析は公的医療の立場を基本として実施されているが、公平性を確保するためには、現行の保険者の立場で考えるのが妥当と考えられる。仮に患者の立場を用いて分析を実施しようとした場合、罹患年齢や病歴など、個々の患者背景によって、結果が多様となることから代表性を集約することは困難であり、現実的な選択肢ではない。

「患者さんの声」が費用対効果評価に反映されていないことは、一方で科学的な観点に重きを置いた評価がなされていることを示唆しており、保険償還の可否を考慮しない、純粋な医薬品の評価という観点で考えると、海外よりも日本の制度の方がその価値をより正確に反映されていると整理することもできる。

・どのように「患者さんの声」を意思決定において活用するか

費用対効果評価制度において、「患者さんの声」を意思決定に活用する場合、まず考えられるのが閾値の調整への利用である。ただし、実際には ICER の納得性を担保することは難しい課題の一つと考えられ、多様な価値を反映するための MCDA (Multiple Criteria Decision Analysis) という考え方や、リスクを回避するための GRACE (Generalized Risk Adjusted Cost Effectiveness) という考え方も示されてきているが、医薬品の数多くの価値をこれらの評価を用いて適切に組み込むことが出来るのか、現時点では明確な方向性を示すことは困難であると言わざるを得ない。

患者アウトカムの課題としては、医療者とのコミュニケーション（認識のギャップ）や疾患の負担やその管理、アンメット・メディカル・ニーズ (UMN)などをどのように評価すべきか、などが挙げられる。

また、「患者さんの声」を意思決定に組み込んで活用する方向性としては、費用対評価のみならず、公衆衛生上の政策決定や、医薬品の価値を表現する際に活用することが方策としては考えられるものの、実装にあたっては、検討すべき課題が多く残されており、実現までには数多くのハードルが存在している。

一方で、医療現場のみならず、薬事審査・保険償還の審査が行われる際や、企業が医薬品の価値を評価する際に、「患者さんの声」を聞くことに対する問題意識の高まりやその重要性を訴える意見が増加していることを踏まえ、患者アウトカムを意思決定に組み込む適切な方法については、継続して検討するとともに、患者さんにとっても恩恵をもたらす方法に

なるよう仕組みづくりをする必要があると考える。

なお、「患者さんの声」を社会に届ける患者団体のあり方について、海外では医療技術評価の途上にあるアプレイザルにおいて、患者団体による主張が償還可否の結果に影響を与えるため、重要な役割を担っている一方、日本では薬事承認された医薬品はほぼ自動的に保険償還されるという背景の違いによって、海外と日本の活動内容や医療保険制度における位置付けが大きく異なることにも留意しなければならない。



まとめ

第2回医療経済塾において、医療経済評価のフィロソフィや方法論、日本における医療経済評価および診療報酬制度の成り立ちについて学び、参加者が同様のスタートラインに立ってから課題検討を行った。1つ目の課題である“費用対効果評価制度の活用”については、対象範囲を広げることや費用対効果評価結果の反映先を新たに検討すること、評価のタイミングや薬事承認との統合などが提案された。2つ目の課題である“どのように「患者さんの声」を意思決定プロセスの中に組み込んでいくか”については、ほぼ100%に近い新規医薬品をはじめとする新規技術が保険償還される日本においては、患者さんの声や患者参画の要素を費用対効果評価制度に組み込むには、透明性・公平性・評価可能性の確保という複数の要件が絡み合い、実効的な反映メカニズムの構築は容易ではないことが確認された。

謝辞

池上直巳先生、鎌江伊三夫先生には、2日間にわたりご講義をはじめワークショップでのご指導、また報告書のご確認を賜りましたことに深く御礼申し上げます。

報告書作成協力

三浦礼恒、桑原比呂代

文責

HTA 研究室 江面美祐紀

論文リスト

- 1) Naoki Ikegami: The concept of Gemeinschaft in health planning and management: A Japanese perspective. International J. of Health Planning and Management. Vol 1:27-43, 1985.12
- 2) Naoki Ikegami, Kenneth Lee: Allocating health resources. Social Policy and Administration 20(2):103-116, 1986.6
- 3) Naoki Ikegami: Health technology development in Japan. Int. J. of Technology Assessment in Health Care 4:239-254, 1988.4
- 4) Naoki Ikegami: Japanese health care: Low cost through regulated fees. Health Affairs 10(3):87-109, 1991.8
- 5) Naoki Ikegami, Brant E. Fries, Yasuo Takagi, Shunya Ikeda and Toshiko Ibe: Applying RUG-III in Japanese long-term care facilities. The Gerontologist 34(5):628-639, 1994.10
- 6) Naoki Ikegami: Economic Aspects of the Doctor-Patient Relationship in Japan-From the Eighteenth Century until the Emergence of Social Insurance. History of the Doctor-Patient Relationship Ishiyaku EuroAmerica.131-146,1995
- 7) Naoki Ikegami, Shunya Ikeda: The paradox of decreasing prices and increasing cost for diagnostic tests, imaging, and drugs in Japan. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 13(1):99-110, 1997.4
- 8) Naoki Ikegami, Shunya Ikeda, Hiroki Kawai: Why medical care costs in Japan have increased despite declining prices for pharmaceuticals, Pharmacoeconomics 14(Suppl. 1): 97-105, 1998.10
- 9) Naoki Ikegami: Should providers be allowed to extra bill for uncovered services? Debate, resolution, and sequel in Japan. Journal of Health Politics, Policy and Law. 31(6):1129-1149, 2006.12
- 10) Naoki Ikegami, Byung-Kwang Yoo, Hideki Hashimoto, Masatoshi Matsumoto, Hiroya Ogata, Akira Babazono, Ryo Watanabe, Kenji Shibuya, Bong-Min Yang, Michael R Reich, Yasuki Kobayashi: Japanese universal health coverage: evolution, achievements, and challenges. Lancet. 378(9796):1106-1115, 2011.9
- 11) Naoki Ikegami (ed.): Universal Health Coverage for Inclusive and Sustainable Development-Lessons from Japan. World Bank, Washington DC, 2014.9
- 12) Naoki Ikegami, Thomas Rice: Controlling spending for health care and long-term care: Japan's experience with a rapidly aging society. Health Affairs. 42(6): 804-814. 2023.6