



日本における 「医療技術等の評価（HTA）」に関する考察

米国研究製薬工業協会（PhRMA）

デイヴィッド・グレインジャー

HTAタスクフォース委員長

2012年7月10日

目次



1. 資格情報と免責事項
2. キーメッセージ
3. 「医療技術等の評価（HTA）」のグローバルプレゼンス
4. HTA 早期導入の目的
5. HTA導入後の影響
6. 国際的なHTAのベンチマーキング
7. HTAの自然史
8. HTAの特性化と構成要素
9. 技術およびステークホルダーに関する考察
10. HTAの進化：英国の事例
11. HTAに関する現在進行中のグローバルな議論
12. 日本に既に存在するHTAの要素
13. HTAの基本原則/適正実施基準
14. 日本におけるHTAの指針
15. まとめ（＝キーメッセージ）



ディビッド・グレインジャー

- ニュージーランド、豪州、米国において製薬業界で経験を積む。
- PhRMAインターナショナル HTA タスクフォース委員長を務める。
- HTAインターナショナル 理事会メンバーを務める。(2012-2013)
- 豪州保健相より、政府-業界間の高官レベルからなる医療政策医薬品アクセス作業グループのメンバーの指名を受ける。
- 過去2年間、EUや英国業界団体と連携し、HTAプロセスを進展させるための短期のプロジェクトを請け負う。

【免責事項】

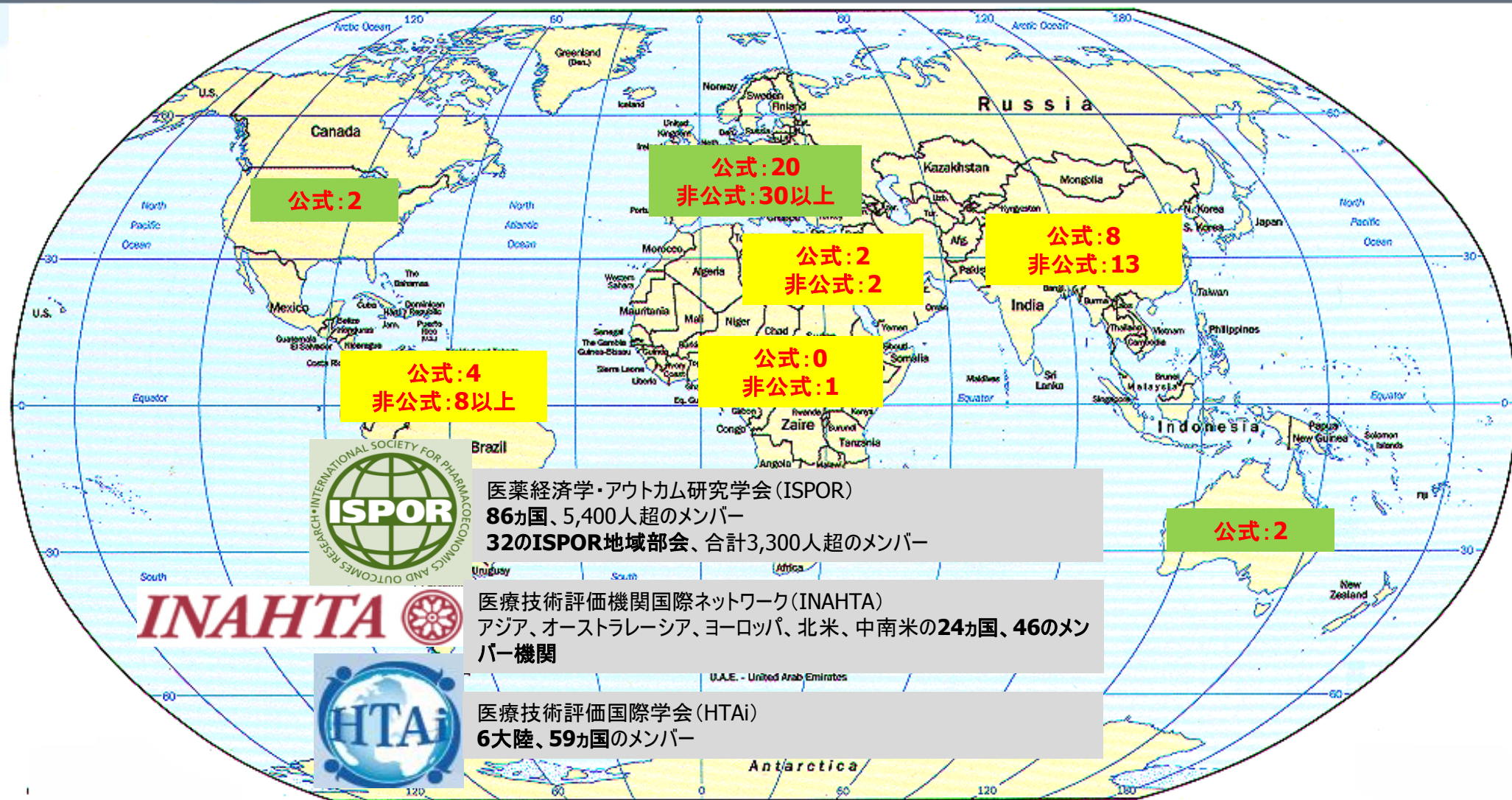
今回示された見解は、PhRMA、イーライ・リリー株式会社、又は製薬業界を代表するものではありません。

キーマッセージ



1. 「医療技術等に関する評価（HTA）」は、世界中に普及・進化してきている
2. HTAシステムの構築・維持には、官・民ともにきわめて多くの資源の集約が必要である
3. HTAは、必然的に患者の新薬へのアクセスを遅らせる
4. HTAの焦点を「ミクロ」から「マクロ」にシフトする必要がある
5. 優れたHTAシステムにおいては、患者のアクセス、治療アウトカム、イノベーティブな産業への潜在的な悪影響を軽減するため、HTAの基本原則/適正実施基準が順守される必要がある
6. 日本にとって最も適切な仕組みやアプローチとなるよう、特にドラッグ・ラグ/デバイス・ラグという点において、主要ステークホルダーとの協調と対話が不可欠である

各国におけるHTAのプレゼンス



HTA早期導入の目的



HTAにおける経済評価の利用には、3つの主要な目的がある：¹

- 価格設定や保険償還を決定するため
- コスト抑制²のため
- 金額に見合う価値を確保するため

経済評価の利用による影響

- 患者アクセスの遅延、制限
- 官・民における必要な資源の増大
 - 規制当局の評価後に、経済評価に係るエビデンスに基づく2度目の評価の実施
 - 開発企業の臨床試験への影響
 - 必要なインフラと能力向上への投資

HTA導入後...



英国—1999年導入

NICEの弊害

2002年時点で、医薬品承認からNICEガイダンス案作成までの平均所要期間(ギャップ)は4年以上あった。
2010-2011年、この期間がようやく4ヵ月に短縮された¹

2004-2008年の間に承認された59のがん治療薬に関するEMA承認からNICE決定までの所要期間の中央値は26ヵ月(783日); スコットランド医薬品コンソーシアム(SMC)の場合、8ヵ月(231日)²

最近、アクセスが却下された医薬品:

- GSKのBenlysta(ベンリスタ): 過去50年間で初めて承認されたループス(全身性エリテマトーデス)治療薬。標的療法であるにも関わらず却下。
- BMSのYervoy(エルボイ): メラノーマ治療薬。

カナダ—2003年導入

2004-2005年、規制当局の承認からコモン・ドラッグ・レビュー(CDR)のポジティブな推奨までの遅延期間は、一般医薬品で平均257日、生物学的製剤で平均186日³

2012年1月現在、2004-2010年に承認された新薬の23%のみ(平均)が、各州の公的保険償還でカバーされている⁴

ドイツ—2011年導入

新たに導入された早期便益評価の結果、革新的な医薬品が市場から撤退

- ノバルティスのRasilemlo(要求データ不足)
- ベーリンガー・インゲルハイムのTrajenta(適切な対照薬に関する意見の相違)
- ファイザーのXiapex(適切な対照薬に関する意見の相違)
- GSKのTrobalt(適切な対照薬に関する意見の相違)

出典: (1) PharmaTimes.com (Mar 1, 2012) [Accessed in May 2012]. (2) Mason et al. (2010) Comparison of anticancer drug coverage decisions in the US and the UK: Does the evidence support the rhetoric?, *Journal of Clinical Oncology*, July 2010. (3) Skinner et al. (2007) [Access Delayed, Access Denied 2007: Waiting for New Medicines in Canada](#). (4) Rovere and Skinner (2012) [Access Delayed, Access Denied 2012: Waiting for New Medicines in Canada](#).

HTAによる弊害の一例

ー Erbitux（アービタックス）



■ 背景

- ・ Erbituxは大腸がんの新薬で、平均生存年齢が既存薬に比べ5カ月延長。
- ・ 既に86カ国で承認され、1.16億ドルの売上。
- ・ 豪州では2010年に医薬品利益検討委員会(PBAC)が、遺伝的に条件を満たす大腸がん患者にとって費用対効果があると認定したものの、財政的な問題から、収載されていない。収載されると年間3000万ドル程度の財政負担が想定される。
- ・ 推定患者数は豪州で2200名。現在の患者負担は、一週間2,000ドルだが、収載されると33.3ドル未満となる見込み。

■ 患者・専門家の声

- ・ 「私たちはその薬を買う金銭的余裕があったが、そうでない家族はどうなるのだろうか。」(患者家族)
- ・ 「政府は、(PBACによって費用対効果の観点から)推奨された薬の中から、こっそりと助成する薬を決める『医者』になってしまっている。」(患者会事務局長)
- ・ 「40歳代の幼い子供のいる患者の余命が6カ月から12カ月伸びた場合、延命した期間がその子供に与える影響をどのように測定することができるのだろうか。」(がん専門医)

...HTAのために必要な資源



	オーストラリア	カナダ	ドイツ	スウェーデン	英国
HTA機関	MSAC/PBAC	CADTH	IQWiG	LFN	NICE
財源	\$22.83m	\$17.9m	\$19.3m	\$7.31m	\$48.6m
常勤スタッフ	15/17人	100人以上	92人	30人	270人

出典: Perez Pugatsch (2009) and OFT (2007)

	オーストラリア	カナダ	ドイツ	英国	英国	フランス	スペイン
HTA機関	PBAC	CADTH	IQWiG	NICE	SMC	HAS/CEPS	各自治州の機関
申請件数	60~70件/年	20~24件/年	29件/年	44件/年	無	無	無
審査プロセスの 所要機関	16~17ヵ月	6~12ヵ月	2~28ヵ月	9~18ヵ月	5ヵ月	6~30ヵ月	6~24ヵ月

出典: Perez Pugatsch (2009), Taylor and Taylor (2009), Cargill (2009)

各国は、患者による画期的な治療オプションへのアクセスに関して、副作用を経験



HTAによる主要な副作用

副作用を経験した国

アウトカム	患者による画期的な治療オプションへのアクセスが、制限又は遅延されている	
要因	a. 評価基準が十分に広範でなく、イノベーションを適切に評価できていない	
	b. 評価が、十分な根拠に基づいていない	
	c. HTAそのものに長期間を要している	

諸外国のHTAは、課題を克服するための進化途上の段階

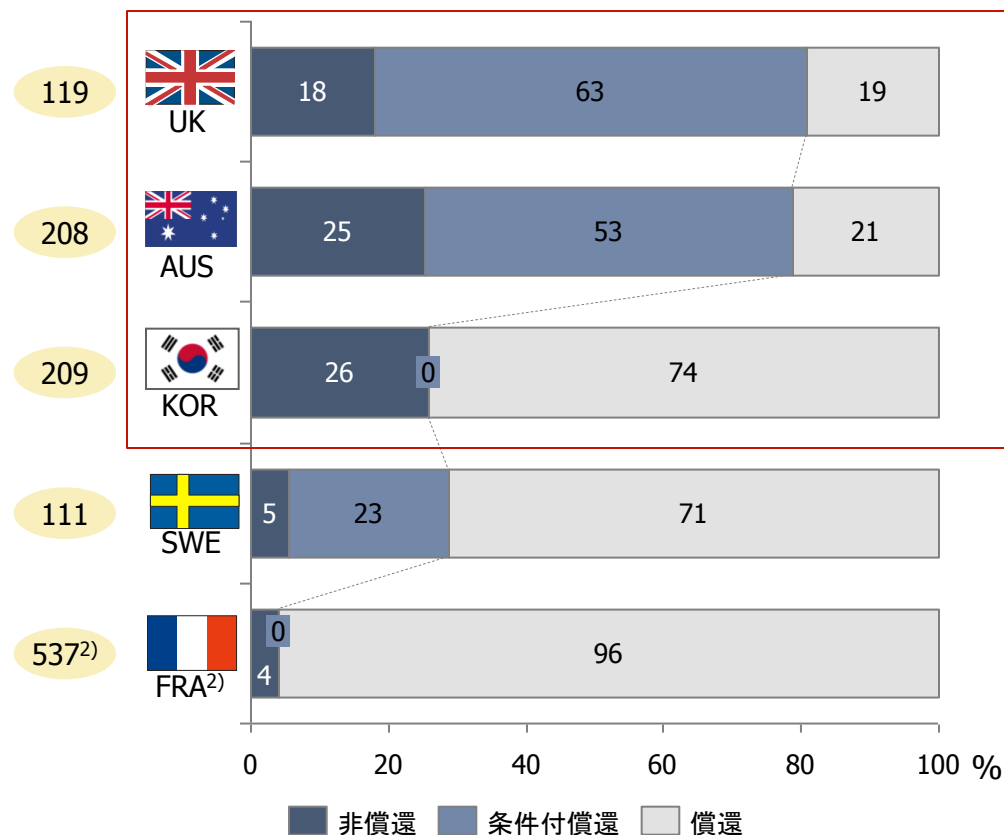
HTAの結果として、治療オプションが制限されている諸外国の事例



PRMA

HTAの結果¹⁾

評価件数



主な要因

Cost/QALYの閾値に基づく、厳格な経済性評価

医療費全体への影響に基づく評価及び厳格な経済性評価

医療費全体への影響に基づく評価及び厳格な経済性評価
不十分な根拠に基づく評価

柔軟性のある広範な便益の考慮

HTAは償還率と価格決定に反映

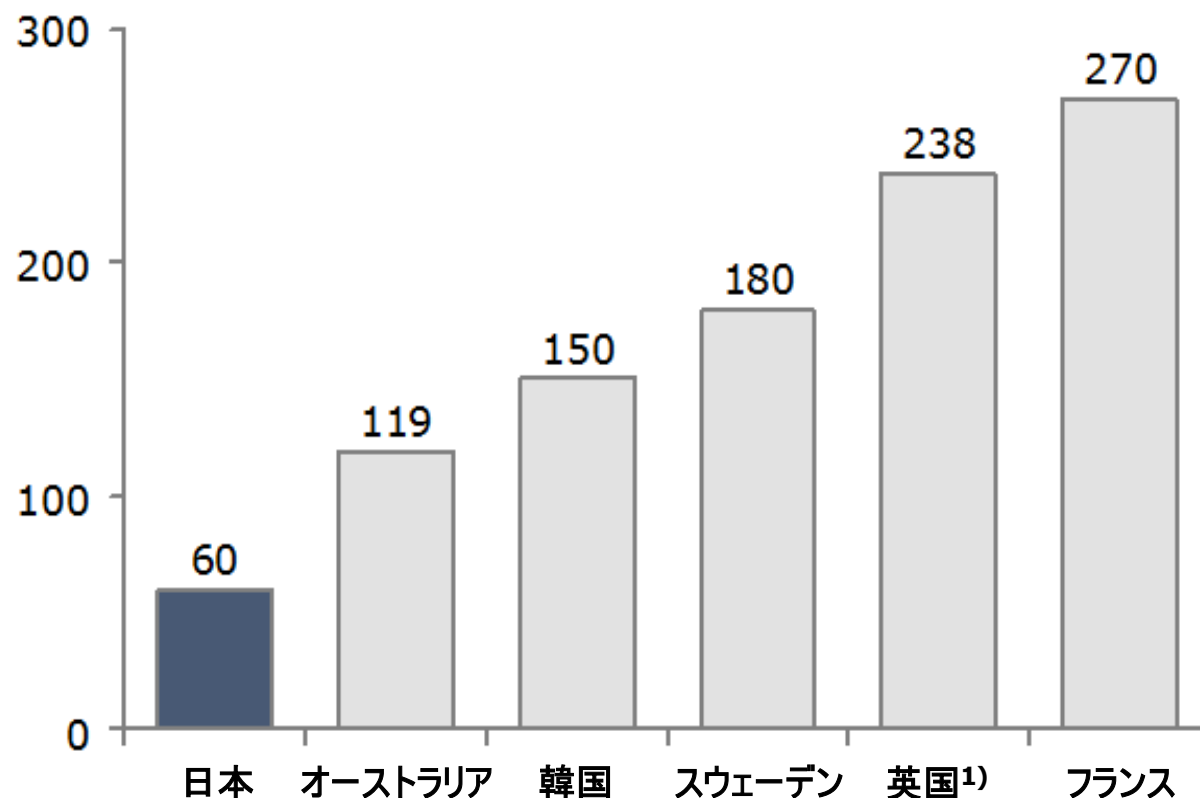
1. 2007-09に評価された治療オプションを対象; ドイツについてはデータなし; 2. フランスについては2007-08のデータを使用
出典: Kanavos et al (2010); Eui Kyung Lee (2011); HAS年次報告書

各国において、承認から治療オプションへの患者アクセスまでに時間のかかる傾向がある。



承認から保険償還までの所要期間

(日数)



償還割合²⁾

~100% 74% 74% 94% 82% 96%³⁾

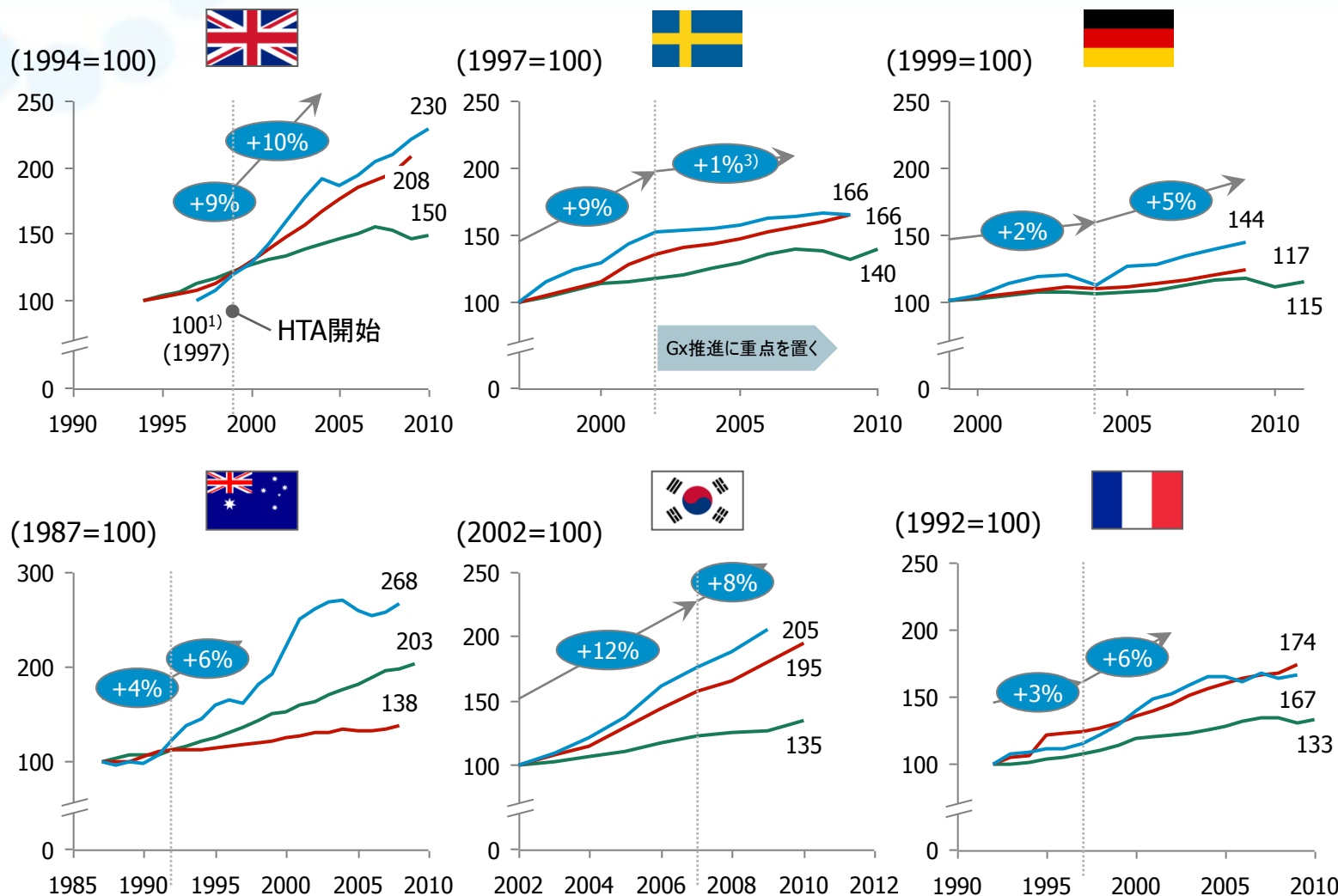
長期間のドラッグラグ
が存在

1.主に初回収載時に行われる単一技術評価 (Single Technology Assessment)の所要期間; 2. 制限付き又は制限なしで保険償還された治療オプションの割合。2007-2009年に評価された薬剤のデータに基づく; 3. フランスについては、2008-2009年にSMR I-IIIと評価された薬剤の割合を使用

注: 日本については、承認から保険償還までの総日数を適用し、日本以外の国については、データ上の制約からHTAに要した期間(申請から評価決定)を適用; 従って、日本以外の国については、実際の承認から保険償還までの所要期間はより長くなると想定される

出典: Fukuda et. al (2011); CRA (2011); Kanavos et. al (2010)

... 国民医療費/薬剤費への影響が混在



注:「HTA」開始とは、HTA機関の設立年と定義する

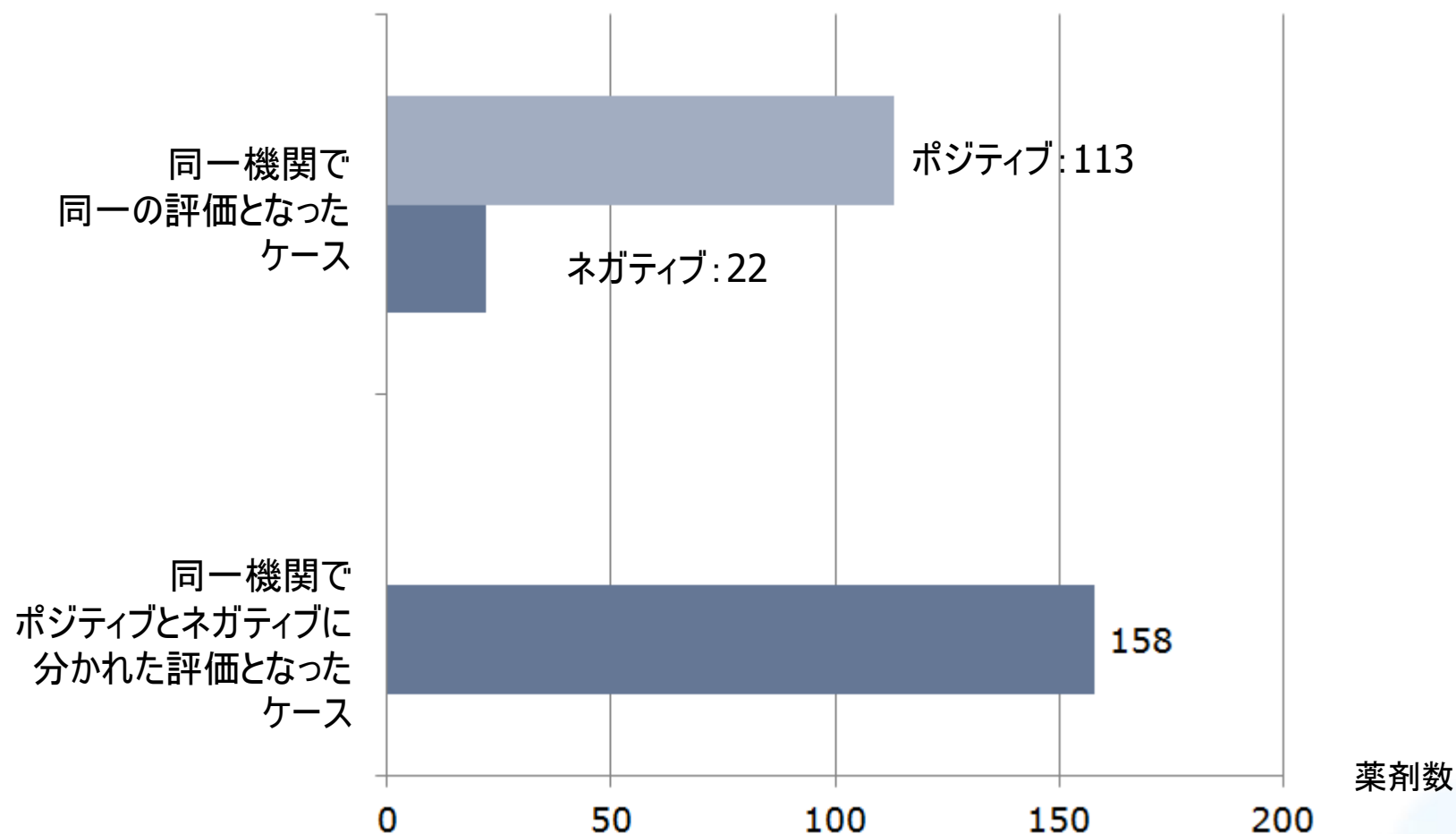
1.処方医薬品の市場規模については、IMSデータを引用し、データ有用性の理由から1997年を100%と設定;2.スウェーデンでは、HTAの導入と同時期にジェネリック代替調剤スキームが導入され、調剤薬局は同一成分・効能の薬剤の中から最も安価な製品を選択するよう義務付けられている;3.スウェーデンの数値は、データ有用性の理由から、処方薬、OTC、その他非耐久性医療財の合計を代替指標として使用

出典:OECD;IMS

... HTAは、同じ薬剤に対して様々に異なる結論を導き出すこともある



6つのHTA機関による評価件数とアウトカム(2007~2009年)



出典: Kanavos et al. (2010) The impact of health technology assessments: an international comparison. *Euro Observer*, Winter 2010, Vol. 12, No. 4, pp. 1-6.

国際的なHTAのベンチマーキング



1QALY/ICER 当たりのコスト



- 質調整生存年 (QALY) または増分費用対効果 (ICER) に基づく費用効果比の閾値を用いたHTAを活用している

予算への影響



- 予期される製品の予算への影響を基に、価格、保険償還、アクセスを取り決めている

イノベーション格付け



- 相対的有効性またはイノベーションの格付けを用いて、製品の価格を決定している

ベネフィットの最適化



- 米国は、唯一、ベネフィットの最適化モデルを使用している



米国における比較効果研究(CER)

- CER とは、「現実世界（"real world"）における予防、診断、治療及び健康状態のモニターを目的とする、異なる介入・戦略の有益性と有害性の比較研究を実施ならびに統合すること。

米国政府の連邦有効性比較研究協議会の大統領・議会へのレポート（2009年6月30日）

- 2009年米国再生・再投資法により、CERを政府優先課題として進展させ、現実世界を前提にCERを実施するための研究基盤を強化するために、10年間に11億ドルの資金を配分することとなった。
- 2010年患者保護と負担可能な医療保険法により、医療政策に係る意思決定のためによりよい情報提供を行えるよう、CERを比較証明を進展させるための研究として位置づけ
 - 独立した非営利団体である「患者中心のアウトカム研究所」(**PCORI**)を設立し、多様なステークホルダーからなる理事会を備え、また、CERのための持続的な官・民の基金も設置（2014年までに6億5000万ドルに到達）。
 - PCORIは1ドルあたりの質調整生存年（又は個人の障害のために命の価値を割り引くような同様の手法）を治療法の費用対効果や推奨するかの閾値として使用することや開発することを禁止。長官は、質調整生存年（又は同様の手法）を収載のカバレッジ、償還、インセンティブプログラムの閾値とすることを禁止。

国際的なHTAのベンチマーキング US CER



PCORIにおける研究及び支援の優先事項

1. 予防、診断及び治療行為等の評価 (40%)

- 代替可能な予防法、診断法及び治療行為の効果を比較することで、特定の疾患をもつ異なる患者にとって最適な方法がわかるようにする。

2. 医療制度の改善 (20%)

- 医療制度の比較、つまり、患者アクセスの改善、患者への支援、医療情報技術の画期的な活用、複雑な条件の調整に係るケア、人材を効率的に配置する等。

3. コミュニケーション及び普及の研究 (10%)

- 比較効果研究情報を提供するアプローチの比較、その情報の利活用の推進、患者と医療提供者の間で共有される意思決定の支援。

4. 格差の解消 (10%)

- 予防、診断及び治療行為の効果の想定される格差、患者の集団において選ばれる治療アウトカム、各集団において最適なアウトカムを達成するための医療制度の確認。

5. 患者中心のアウトカム研究と手法の研究の推進 (20%)

- データ集積のインフラを構築し、分析手法を改良し、研究に参画できるような研究者・患者・その他の関係者の育成により、患者中心のアウトカム研究能力を向上させる。

日本でのイノベーション評価に基づく薬価設定



価値レベル	定義
画期性加算	次の要件を全て満たす新薬 a) 臨床上有用な新規の作用機序を有する； b) 類似薬に比して、高い有効性または安全性を有することが、客観的に示されている； c) 当該新規収載品により、当該新規収載品の対象となる疾病または負傷の治療方法の改善が客観的に示されている
有用性加算 (I)	画期性加算の3要件のうち、2つの要件を満たす薬剤
有用性加算 (II)	次のいずれかの要件を満たす新規収載品 画期性加算の3要件のうち1つの要件を満たす薬剤、または、製剤における工夫により、類似薬に比して高い臨床上の有用性を有することが客観的に示されている薬剤

HTAの発展方向



	発生 [早期投資]	統合 [運用上]	拡大 [必須]
何故? [根拠]	- ニーズ、需要、供給の収束 - 主要人物は、HTAの「チャンピオン」 - 受容的な政策/政治環境	- 早期の成功が、より多くの政策立案者の関心を集める - HTAを受けた製品への需要拡大 - 正式決定された優先設定プロセス	- 公式な政治談話の一部としてのHTA - 多様な製品に対する需要の増大
何を? [領域と範囲]	- 医療技術の狭い解釈 - 高集約型技術(イメージング) <u>医薬品の排除</u>	- HTA範囲の拡大 <u>医薬品追加の可能性</u> - 特定の技術から、健康管理のためのケアプロセスへのシフト	- HTA範囲の更なる拡大(<u>医薬品</u>、公衆衛生、デリバリー・モデル、社会サービス) - 既存診療と新しいインターベンション
如何に? [手法と組織モデル]	- 適度の資源、時にプロジェクト・成果物に特異的 - 最小限の科学的能力	- 科学チームの増員 - 資源モデルの追加 - リサーチ・パートナーシップの検索	- 著しい資源の増大 - 科学チームの増員、パートナーシップの拡大 - 製品の多様化 - 臨床診療ガイドライン
その後、何を? [知識移転(KT)戦略]	- 最小限の知識移転(KT) - 政策立案者を対象とした、往々にして個人的なコミュニケーション手段による取り組み	- KTの取り組み進展 - 対象オーディエンスの拡大	- 複数の対象オーディエンスの統合 - KT手法の専門化 - KTへの資源割り当ての増加

HTA制度の特性化



HTAのガバナンスと組織

- ・ 機関/委員会
- ・ 優先事項の設定と意思決定のためのHTAエビデンスの検討に関与する組織
- ・ HTAの検討事項を決定する組織
- ・ 償還要件と償還制限
- ・ ステークホルダーの関与
- ・ 国際協調

HTAの議題選定と分析設計

- ・ 議題選定の管理
- ・ 議題選定の基準
- ・ 評価基準
- ・ 要約または公表された基準
- ・ 分析の観点
- ・ 評価に要する期間

エビデンス要件と評価手法

- ・ メーカーが提出すべき書類
- ・ 文献レビュー・統合
- ・ 未公表データ/灰色文献
- ・ 望ましい臨床試験タイプ/エビデンス
- ・ 望ましい、または必要な経済評価タイプ
- ・ 方法論的要件を要約したガイドラインの有無
- ・ 比較薬の選択、(望ましい)アウトカム因子の仕様、サブグループ分析、コストタイプ(直接/間接)、必要な増分分析、計画対象期間、エクイティ問題、値引き、モデル化、感度分析、費用対効果(CE)/支払い意欲額(WTP)の閾値、不足/完全データ、方法論的開発などの問題を含んだ方法論的要件

HTAの普及と実施

- ・ HTAの普及経路
- ・ HTA結果の利用
- ・ 意思決定において検討されるエビデンス
- ・ 訴訟など、効果的な実施の妨げとなる問題の報告
- ・ 影響測定のための公式なプロセス
- ・ 再評価/不服申立てのためのプロセス
- ・ ステークホルダーの意見に対する説明責任
- ・ 透明な/公開された意思決定プロセス

HTAの構成要素



実薬もしくはプラセボ対照
ランダム化比較試験
(RCT)データ(メタ分析を
必要とする)

適格な専門家の意見(フランス)、または、
より長期の治療期間モデル、代用評価
項目等を用いて解釈された相対的効
果

1QALY当たりのコスト、
有効フロンティア、
WTP等を用いた更な
る解釈

利用パターン、単価、総
償還コストの予測

相対的有効性

相対的効果

経済評価

利用および予算への影響の推定

各国固有ではなく、集
中型の可能性あり。
高度な分析能力、アウ
トカム全般を評価する
能力が求められる

各国固有で、医療制度、ケアパターン、治療目標、医療に関する政治目標、各国の単価を考慮する必要がある。また、ハーモナイゼーション(国際的整合性)の向上や総体的なHTAのベストプラクティス原則(透明性、ステークホルダーの意見、不服申立て等)の一層の順守が求められる。

注:赤線は、限定された集中化の範囲を示す(相対的有効性)。破線の右側は全て、より複雑な要素で、広範にわたる相談や慎重なパイロット化が求められ、これらの要素いずれかを集中化する場合は、相対的有効性を集中化する場合よりも、不明確である。



- エビデンスの生成に関連する幅広い問題
 - 国際協調
- 妥当性
- 適用可能性
- 転換に関連する問題
- 「評価」の重要性
- 適切な比較薬
- エビデンスの移転性、HTAにおける評価



オプションの範囲

- 患者代表の評価委員会への参加
例) NICE、PBAC、SMC
- 評価委員会における患者の「専門家証言」
例) NICE
- 評価中の特定技術に対する患者見解の提出オプション(テンプレート、オンライン等)
例) SMC、PBAC、CADTH
- 委員会が、ある疾患/状態に関して十分な実体験の知識がない場合に求める「消費者影響報告書」
例) PBAC

HTAの進化: 英国の事例



2009: クックシー・レビュー (Sir David Cooksey review)

- 『現在、認知されている英国産業の問題は、NICEによる評価がイノベーション、医薬品の採用やアクセスを支援する形で運用されておらず、従って、企業の英国への投資を躊躇・断念させている点である』

2009-10: ケネディ・レビュー (Sir Ian Kennedy review)

- 『イノベーションが重要になってくるのは、ある製品が3つの基準を満たしていると製薬会社が主張する場合、すなわちその製品が、
 - 新製品であり、
 - 既存製品への改善/向上が含まれており、
 - これまで以上のもの、例えば患者のアウトカムの大幅な改善、を提供している場合である』
- NICEは、イノベーションを認識し、それに報いるべきであり、イノベーションは『申立てによってではなく、実証される』必要があるが、『潜在的な』革新的ベネフィットについては『エビデンス開発に応じた保険適用 (Coverage with evidence development)』や『条件付き薬剤費保険負担 (Managed entry)』契約で報いることも可能である、と提言。

2010-2012: 英国は独自の「価値に基づく価格 (Value-based pricing)」システムを開発中 — 英国政府は、対象となる価値の範囲拡大により、『イノベティブ』製品の奨励を目指している

- 病気/アンメットニーズによる負担、治療上の影響とイノベーション、社会への影響



より広範な医療制度の検討に有用

- 患者のアウトカムを最適化し、医療制度の持続性を維持するために一般的に認められた、効率性と効果の向上に対するニーズ
- 「マクロ的な」医療技術等の評価の概念や以下の考察を含むべき：
 - 制度全般にわたる技術やインターベンションの範囲
 - 慢性疾患の治療内容の最適化
 - イノベーションのための上部空間（機会）の創造
- 例：医療制度の非効率性に関する英国医療経済研究所（OHE）のサーチプロジェクト

医療制度内のHTA



WHOの医療制度フレームワーク

医療制度の構成要素

サービスの提供

医療従事者

情報

医薬品、ワクチン、医療技術

資金調達

リーダーシップ/ガバナンス

アクセス
保険適用

品質
安全性

全体的な目標/アウトカム

健康増進(レベルとエクイティ)

反応性

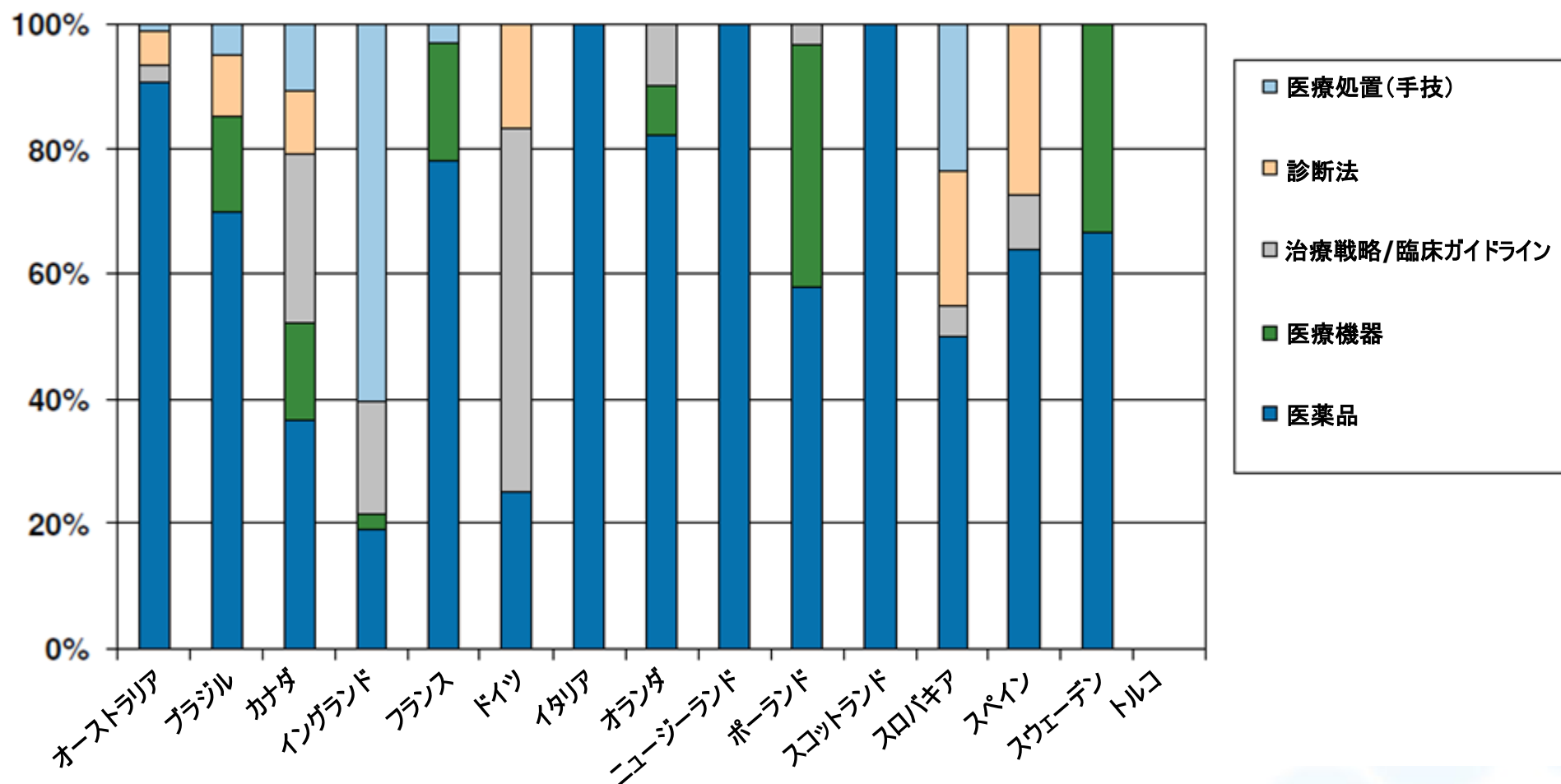
社会的・経済的リスク保護

効率性の向上

医療制度内のHTA



図21: 技術タイプ別審査分布(2009)⁹⁶



出典: Wilsdon and Serota (2011). [A comparative analysis of the role and impact of Health Technology Assessment](#). May 2011.



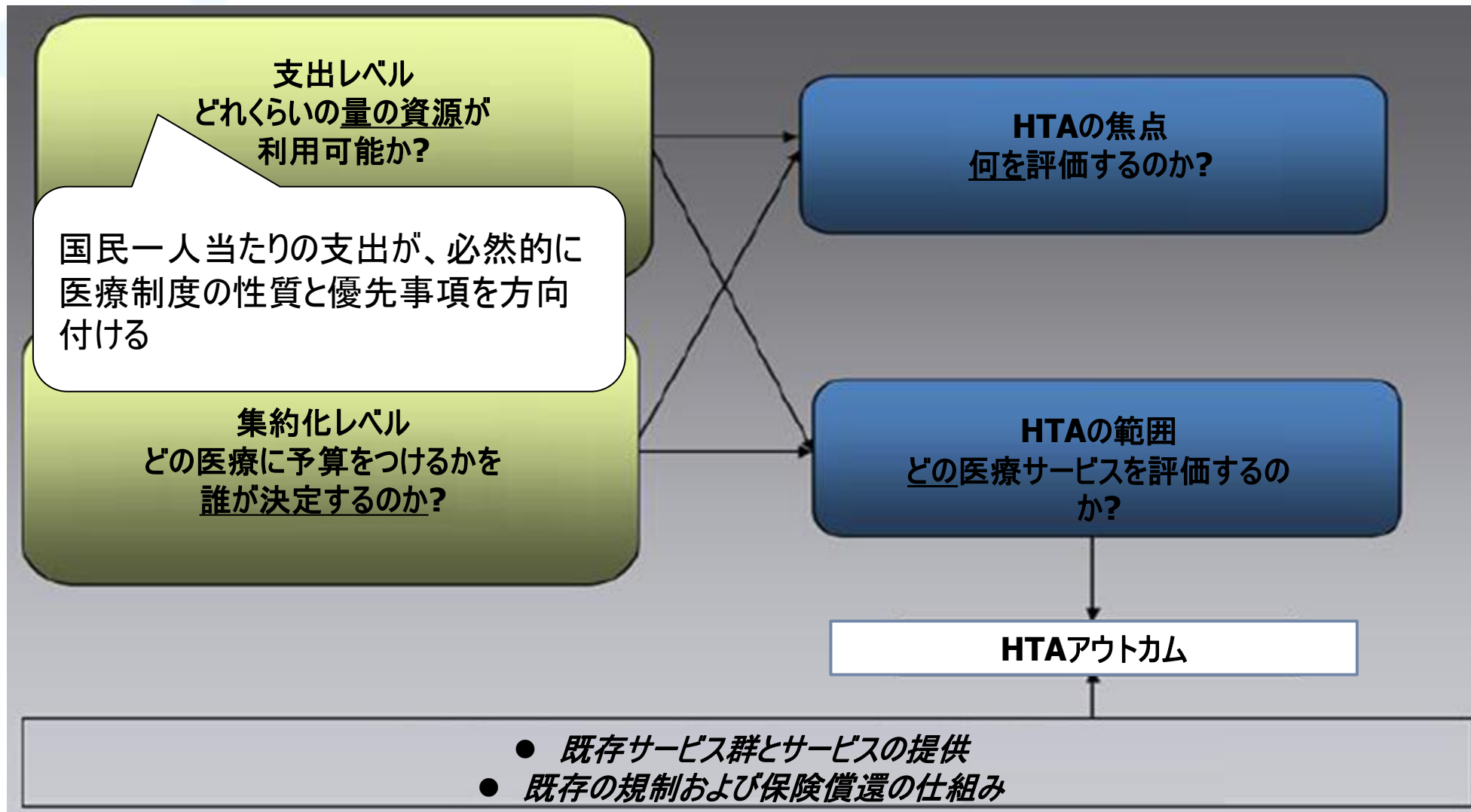
- 『マクロレベル』—医療制度の構造と効率性に焦点を置く
(インセンティブ・システム、医療ケア・パスウェイ、施設の最適化等)
- 『ミディアムレベル』—臨床実践ガイドラインの開発を目的とする。
治療パターンや健康アウトカムの多様性が高い場合に考えられる。
- 『ミクロレベル』—個別技術または関連技術グループの評価を目的とする。
相対的または比較的效果、あるいは増分費用対効果という観点からの価値理解が求められる場合がある。

効率性およびコスト削減の種類



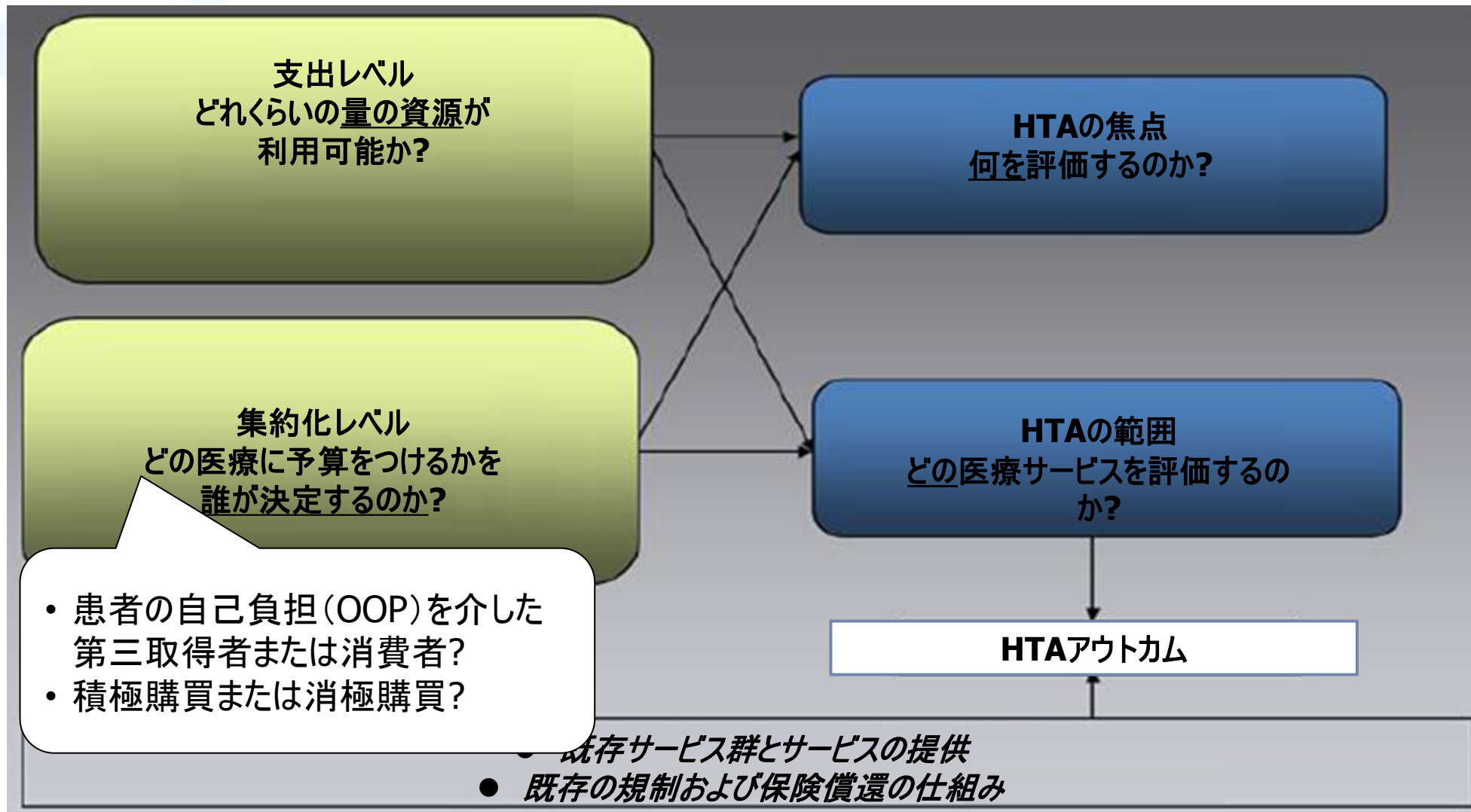
技術効率	生産効率	分配効率	低投入物価指数	コストシフト
取引コストの削減	医薬品を超えたHTAの拡大	需要管理	薬価規制	患者の自己負担
医療ケアコーディネーションの改善	臨床ガイドライン	低/無利益サービスからの撤退	スタッフの給与統制	民間医療保険の奨励
医療の質に対する支払 (Pay-for-performance)	ジェネリック医薬品代替調剤	「ゲートキーパー (早期発見・早期介入)」	集中調達	セルフケア
休遊地/使用していない建物の売却	予防医療			
	患者のアドヒアランス			
	スタッフ配置率の低減			

医療制度とHTAに関する 現在進行中のグローバルな議論



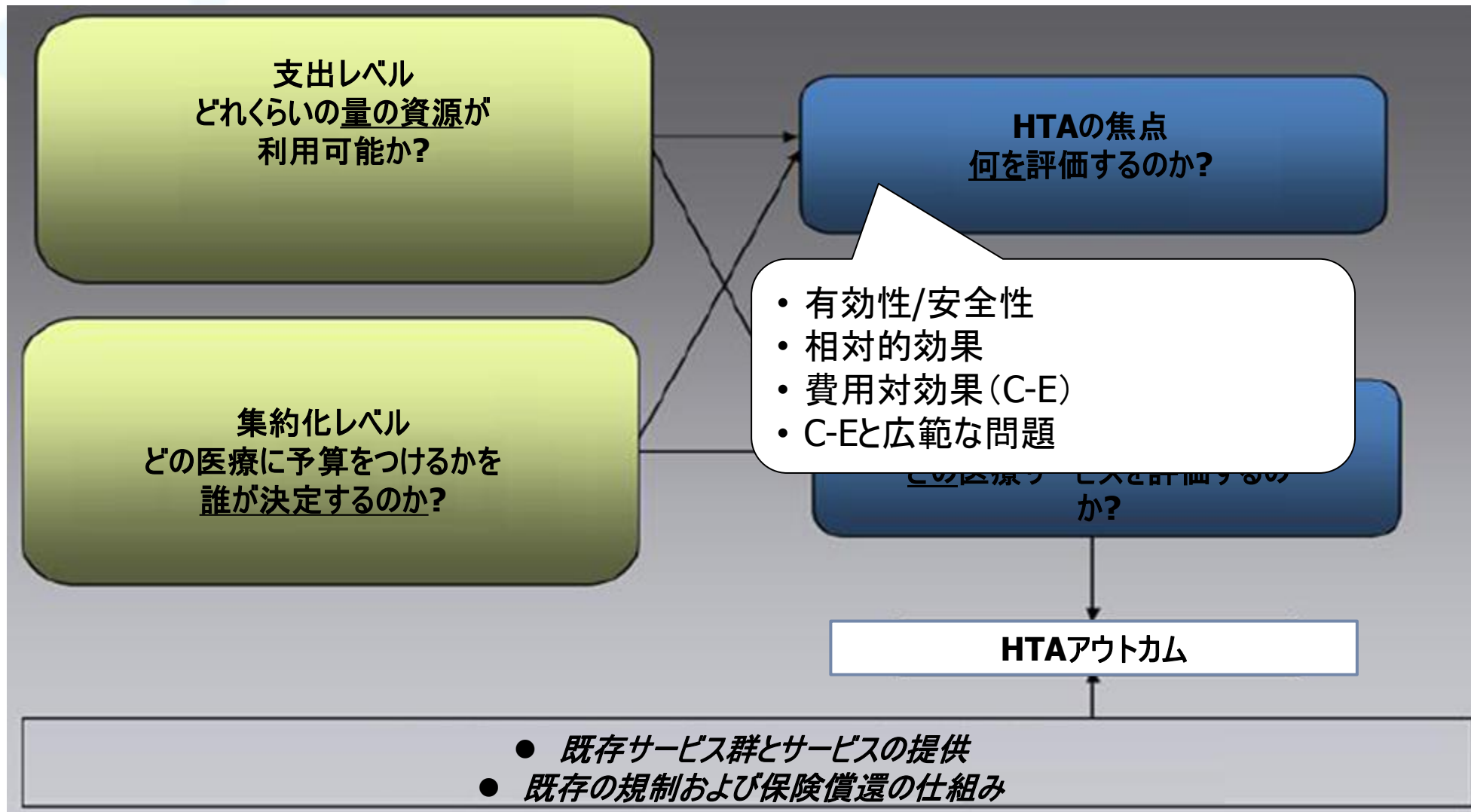
Source: Towse et al. (2011).

医療制度とHTAに関する 現在進行中のグローバルな議論



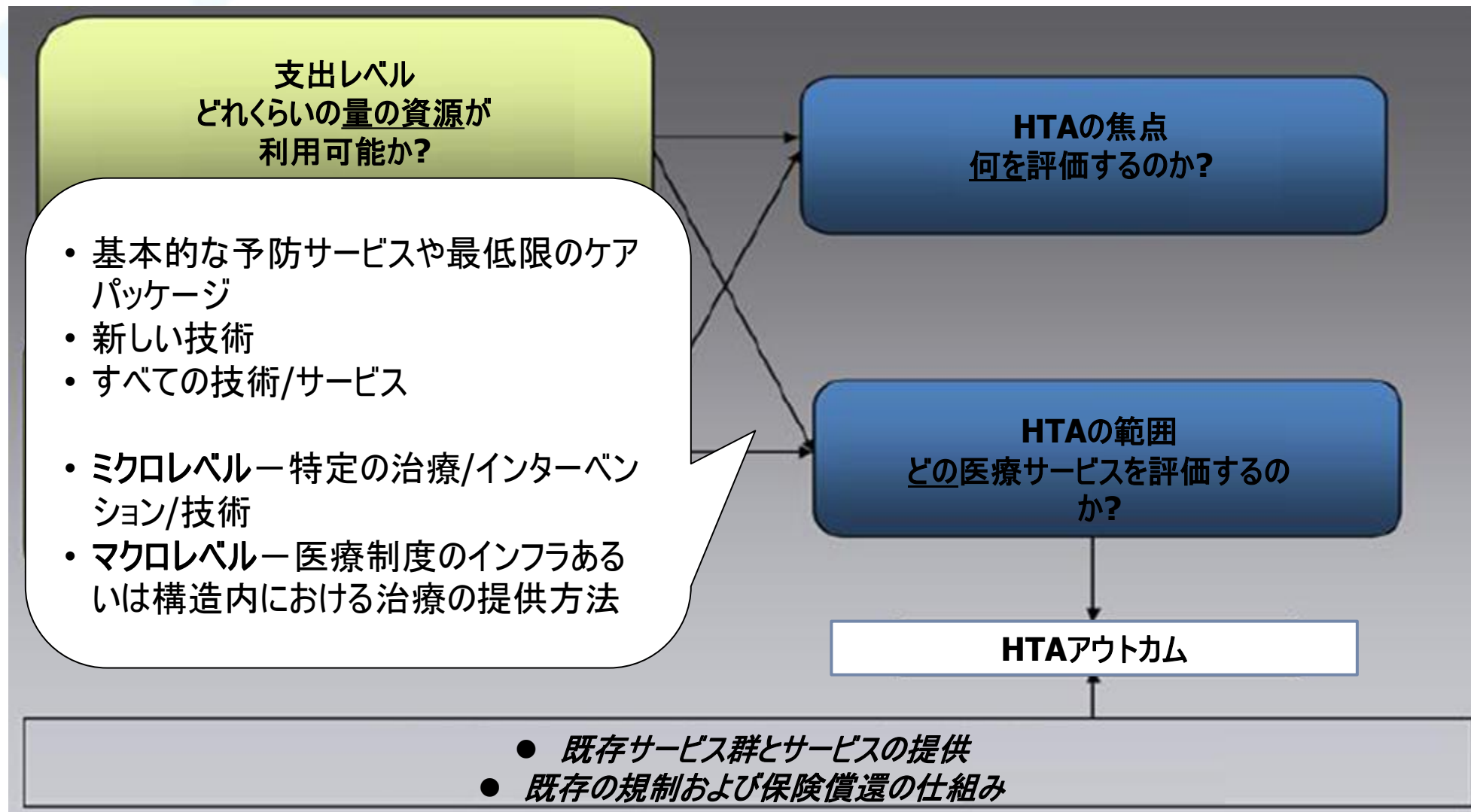
Source: Towse et al. (2011).

医療制度とHTAに関する 現在進行中のグローバルな議論



Source: Towse et al. (2011).

医療制度とHTAに関する 現在進行中のグローバルな議論



Source: Towse et al. (2011).

日本に既に存在するHTAの要素



- 日本において、HTAは患者のアクセスに悪影響を与えることなく、現在の保険償還・薬価システムのもと、既に長年にわたって取り入れられてきた。
- 特に、このシステムは、有効性や安全性、さらには社会的・倫理的側面も含めた様々な評価基準に基づいて治療オプションの価値を評価するようにデザインされている。
- システムは既に存在しているが、適切に治療オプションを評価したり、イノベーションに報いたりするための更なる強化の機会が依然として存在している。

HTAの基本原則



1. HTAには、明確かつ適切な目標と範囲が必要である
2. HTAは、公平、厳格、かつ透明でなければならない
3. HTAは、関連性のある全ての技術を含まなければならない
4. HTAには、優先順位決定の明確なシステムが必要である
5. HTAには、コストとベネフィットを評価する適切な手法が取り入れている必要がある
6. HTAでは、広範なエビデンスとアウトカムを検討する必要がある
7. HTAでは、社会的な全体像を考慮する必要がある
8. HTAでは、評価に関連する不確実性を明確に説明する必要がある
9. HTAでは、ジェネリック化の可能性や転換性を検討する必要がある
10. HTAでは、主要なステークホルダーグループすべての参加を積極的に促す必要がある
11. HTAを実施する者は、使用可能なデータすべてを積極的に要求する必要がある
12. HTAの結果の実施は、モニタリングする必要がある
13. HTAは、その他の規制審査とは別に、適宜行われる必要がある
14. HTAの結果は、他の意思決定者に適切に伝達される必要がある
15. HTAの結果と意思決定プロセスの相互関連は、透明かつ明確に定義される必要がある

我が国のHTAの改善に関する4つの基本方針



1 患者の様々な治療オプションへのアクセスが引き続き維持されるべき

2 治療オプションの価値の評価は適切かつ包括的に行われるべき

3 官民それぞれにおける追加的な負荷は最小限にとどめるべき

4 イノベーションが十分に評価されるべき



基本方針

1

患者の様々な治療
オプションへの
アクセスが
引き続き維持される
べき

基本原則

1a 承認後の広範な保険償還の維持

- 現状、安全性と有効性が確認された治療オプションについては、ほぼ全てが保険償還の対象となる
- HTAの仕組みの改善に当たり、医師や患者が最適な治療法を選択するための選択肢を狭めるべきではない

1b 承認後の迅速な保険償還の維持

- 現状、安全性と有効性が確認された治療オプションについては、基本的に当該確認のための申請に用いたデータのみをもって、迅速に保険償還の対象とされる
- HTAの仕組みの改善に当たり、過大な追加データを求めたり、当該データの評価に長い時間をかけることで、患者の新たな治療オプションへのアクセスを遅らせることは避けるべきである



基本方針

2

治療オプションの価値の
評価は適切かつ
包括的に行われる
べき

基本原則

2a 治療オプションの広範な便益のより明確な考慮

- HTAの仕組みの改善に当たっては、患者の直接的便益のみならず、必要に応じて患者や社会にとって重要な間接的便益についても考慮するべきである
- 医療経済評価は、HTA全体のある一面に過ぎないものであり、これのみを過大に取り上げることは適切でない

2b 適切な評価手法や評価基準の採択

- 治療オプションによって最適な評価手法や評価基準は異なる
- Cost / QALYのような単一の指標を用いて一定の閾値での償還／非償還を機械的に決定するような仕組みは、患者に対する価値の全体を取り入れることができない恐れがあることから、断じて避けるべき

2c 高い専門性を持った人材の育成および適切なデータベースの整備

- HTAの仕組みの改善に先立ち、疫学データベースや医療費データベースの整備に対して長期的視点に立った十分な投資を行い、かつデータを適切に扱える専門性の高い人材を育成することが不可欠である

2d 評価手法やプロセス、結果に関する高い透明性の確保

- 評価手法や評価基準は、幅広い関係者が参画し、透明な形で形作られるべき
- 判断のプロセスや評価結果は開示され、不服申し立ての機会を与えられるべき



基本方針

3

官民それぞれに
おける追加的な負荷は
最小限にとどめるべき

4

イノベーションが十分に
評価されるべき

基本原則

3a 追加的に求められるデータ収集コストの極小化

- ・ 対象とする治療オプションは、患者のための医療サービスの改善に対して期待される効果の程度を勘案して、慎重に選択されるべき
- ・ 上市後の実臨床において無理なく収集できるデータを使用するべき
- ・ 早い段階で当局と事業者の間で協議を行い、要求されるデータについてのコンセンサスを得ることで、双方にとっての負荷を減らすべき

3b 追加的な事務コストや事務組織の極小化

- ・ 社会的に追加の負担となるような不必要な事務コストの発生は避けるべき
- ・ 現在の管理組織を最大限活用することで対処すべき

4a イノベータティブな治療オプションに対する高い経済的価値の付与の確保

- ・ 現状では、イノベータティブな治療オプションに対して高い経済的価値を付与するための各種加算制度が十分に機能していない
- ・ さらに、医薬品には、イノベーションの程度に関わらず、価格を強制的に切り下げる市場拡大再算定の仕組みも存在する
- ・ HTAの仕組みを改善するのであれば、市場拡大再算定の対象品目について、患者にとっての価値を適切に評価できるようにすべき
- ・ 患者への治療の質向上のためにイノベータティブな治療オプションが継続的に開発されるよう、イノベーションが十分に評価され、高い経済的価値が付与・維持されるような配慮が必要である



1. 「医療技術等に関する評価（HTA）」は、世界中に普及し、進化してきている
2. HTAシステムの構築・維持のためには、きわめて多くの資源を集約する必要がある
3. HTAは、必然的に患者の新薬へのアクセスを遅らせる
4. HTAの焦点を「ミクロ」から「マクロ」にシフトする必要がある
5. 優れたHTAシステムは、患者のアクセスや治療アウトカム、イノベーティブな産業への潜在的な悪影響を軽減するため、HTAの基本原則/適正実施基準が順守される必要がある
6. 日本にとって最も適切な仕組みやアプローチとなるよう、特にドラッグ・ラグ/デバイス・ラグという点において、主要ステークホルダーとの協調と対話が不可欠である