

## 日本における「医療技術等の評価」に関する PhRMA の提言

### 1. 「医療技術等\*の評価」とは

「医療技術等の評価」(Health Technology Assessment : HTA) とは、すべての患者に最大限の治療効果をもたらす最適な意思決定が行えるよう、様々な治療オプションの価値を、科学的、経済的、社会・倫理的側面を含めて総合的に評価するアプローチを指す。加えて、患者にとっての治療オプションのイノベーションを奨励し、最終的にはより質の高い医療システムの構築に資することを企図したものである。

※本稿において、「医療技術等」には、医療技術(手技等)、医薬品、医療機器の全てを含むものとする。

### 2. 日本における「医療技術等の評価」と、さらなる改善の余地

日本において、「医療技術等の評価」は、患者のアクセスに悪影響を与えることなく、既に、保険償還や価格決定のシステムに長年にわたって内包されてきている。具体的には、治療オプションの価値を、有効性や安全性、社会的・倫理的便益といった幅広い基準に基づいて評価する形のシステムが構築されているところである。

その一方、こうしたシステムは確かに存在するものの、治療オプションを的確に評価し、イノベーションに報いていくためには、さらなる改善の余地が存在することも事実である。

### 3. 海外の「医療技術等の評価」からの教訓

「医療技術等の評価」は、異なる医療システムのもと、異なる課題を抱える様々な国によって導入され発展してきた。しかしながら、どれ一つとして単一で成功例とみなせる国はなく、いずれの国においても、革新的な治療オプションへの患者のアクセスを制限させたり、遅延させたり、あるいはイノベーション自体を抑制してしまうなどの副作用に直面している。

日本において「医療技術等の評価」の仕組みを改善するに当たっては、海外の先行事例から十分に教訓を得た上で進めるべきである。

### 4. 日本における「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たって遵守されるべき

#### 基本原則

患者ニーズに合致し、国民の健康状態の向上に資する医療の改善を継続的に支えるために、日本における現在の「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たって遵守すべき 4 つの基本方針と、9 つの基本原則を提案したい。

- 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こと
- 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こと
- 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こと
- 4) イノベーションが十分に評価されるべきこと

## 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こと

### 1a) 承認後の広範な保険償還の維持

- ・日本では国民皆保険制度が確立されており、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、ほぼその全てが保険償還の対象となるため、医師や患者にとっての治療選択の自由度は高い。
- ・「医療技術等の評価」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ようなことがあってはならない。

### 1b) 承認後の迅速な保険償還の維持

- ・日本の医療制度／医療保険制度においては、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。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たり、保険償還のための過大な追加データの提出を求めたり、当該データの評価に長い時間をかけたりすることは、患者の新たな治療オプションへのアクセスを遅らせる危険性が高く、慎重であるべきである。

## 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こと

### 2a) 治療オプションの広範な便益のより明確な考慮

- ・日本の医療保険制度においては、保険償還の可否や償還価格の決定において、有効性や安全性、社会的・倫理的便益を含む幅広い定性的基準や定量的基準が用いられているが、それぞれの基準による評価がどのように判断結果に結びついているのかは必ずしも明確でない。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、治療オプションの広範な便益についてより明確に考慮するようにしなければならない。各治療オプションのアウトカムの評価に当たっては、単に患者の直接的便益のみならず、必要に応じて、患者のQOL、患者を取り巻く家族や雇用者にとっての便益、患者の機能回復やそれによる経済的生産性の回復といった患者や社会にとって重要な間接的便益をも含めて行うべきである。なお、医療経済評価は、「医療技術等の評価」全体のある一面に過ぎないものであり、当該治療オプションが患者や社会にもたらす幅広い便益を考えると、これのみを過大に取り上げることは適切でない。特に、対象患者数は少ないものの、当該患者にとっての命綱となるような社会的必要性の高い治療オプションに対する医療経済評価の適用については、十分に慎重であるべきである。

## **2b) 適切な評価手法や評価基準の採択**

- 日本における現在の「医療技術等の評価」の仕組みにおいて、医療技術、薬剤、材料の3つの領域それぞれについて有効性や安全性の確認のための評価手法や評価基準があり、さらに、償還価格や加算の決定においては、一定の経済的評価も行われているところである。
- 今般、厚生労働省から「費用対効果を勘案した医療技術等の評価」の検討に着手する旨が公表されたところであるが、治療オプションによって最適な評価手法や評価基準は当然ながら異なってくるものであり、各治療オプションに最も相応しい評価手法や評価基準が選択されるべきである。Cost / QALYのような単一の指標を用いて画一的に閾値を当てはめることにより償還／非償還を機械的に決定するような仕組みは、患者にもたらされる様々な価値を取りこぼす恐れがあることから、断じて避けるべきである。

## **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**

- 十分なエビデンスに基づいた「医療技術等の評価」を行うためには、適切な臨床データや疫学データの活用が不可欠であるが、日本は他の先進諸国に比して疫学データベースや当該疾病の治療に要した医療費のデータベースの整備が不十分であり、また、こうしたデータの収集や分析に長けた専門性の高い人材の育成も十分には行われてきていない。
- 「医療技術等の評価」の仕組みの改善に先立ち、こうしたデータを適切に扱える専門性の高い人材の育成や、利用可能な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う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**

- 日本における現在の「医療技術等の評価」では、情報開示や幅広い関係者の関与の度合いという意味において、評価の手法やプロセス、評価結果について十分に透明性が確保されているとは必ずしも言えない。
- 「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、評価の手法やプロセス、評価結果に関する高い透明性が確保されるべきである。とりわけ、評価手法や評価基準については、幅広い関係者の参画によって透明な形で策定されるべきであり、また、判断のプロセスや評価結果はきちんと開示され、不服申し立ての機会も与えられるべきである。

### **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こと**

#### **3a) 追加的に求められるデータ収集コストの極小化**

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」においては、主として治験時のデータが使用されており、追加的なデータの提出要求は極めて限定的である。事業者は、保険償還における加算を取得したい場合にのみ、自発的に追加的なデータを収集すればよい状況にある。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たり、追加的なデータ収集が求められるとしても、以下のような点に留意することで、データ収集の負荷は適切な水準に留められるべきである。

第一に、「医療技術等の評価」の対象となる治療オプションは、患者への医療サービスがどの程度改善されるのか、その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である。また、「医療技術等の評価」には、上市後の実臨床において無理なく収集できるデータが使用されるべきであり、上市時において追加の臨床試験データの収集が強いられるべきでない。さらに、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、双方の負荷を減らすべきである。

#### **3b) 追加的な事務コストや事務組織の極小化**

- ・日本における「医療技術等の評価」は、長年にわたり、厚生労働省が外部の専門家で構成される審議会を活用する形で実施、運用されてきた。
- ・「医療技術等の評価」の仕組みの改善に当たっては、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られるべきであり、現在の実施・運用体制を最大限活用することで対処されるべきである。

### **4) イノベーションが十分に評価されるべきこと**

#### **4a) 革新的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**

- ・日本における現在の「医療技術等の評価」では、革新的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存在するものの、その評価は限定的であり、十分に機能しているとは言い難い。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。
- ・「医療技術等の評価」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、それらの品目が患者にもたらす価値を適切に評価できるようにすべきである。また同時に、患者への治療の質向上のために革新的な治療オプションの開発が継続的に行われるよう、革新的な治療オプ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。