

2016年より「医療システムの持続可能性とイノベーションの両立」シリーズと題し、複数回にわたる専門家会合やラウンドテーブル・ディスカッションを実施し、論点の整理を行ってきました。2018年度に開催した5回の会合で抽出された議論の概要を取りまとめました。

2018年度連続フォーラムプレ会合～試行的導入から見えてきた費用対効果評価導入への課題～

今年度の優先課題を整理する場として、5月31日にプレ会合を開催しました。今年度のテーマとして3つの論点（技術的な課題、制度化に向けた課題、国民の理解）が合意され、さらなる議論をすべく、連続フォーラムの実施が決定されました。

参加者の主な発言

- 持続可能な医療システムとイノベーションを両立するためには、まず医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）の定義を再確認し、またその活用の可能性を検討すべき
- 費用対効果評価の方法について、学術的・実務的・科学的な視点から再検討し、再分析や総合的評価（アプレイザル）などの各プロセスの役割や枠組みについても、見直しが求められる
- 費用対効果評価から得られた結果を既存の保健システムに反映・活用していくために、諸外国におけるHTA実施状況の調査など、総合的な議論と検証が求められる
- 企業が費用対効果評価へ積極的に取り組めるような仕組みづくりが必要
- 国民的な議論を促進するためには、費用対効果評価の導入が国民へ与える影響について、正確で分かりやすいコミュニケーションが重要



連続フォーラム第1回：技術的な課題

～試行的導入で明らかになった分析方法の課題および総合的評価（アプレイザル）のあり方～

第1回フォーラム（7月19日）では、産官学民のステークホルダーが結集し、費用対効果評価の試行的導入を通して明らかになった技術的な課題について、議論を交わしました。

参加者の主な発言

- 現状の「増分費用効果比（ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio）による価格調整方法」では、僅かなICERの差異によって価格調整に大きな差異が生じるため、ICERの不確実性が十分に考慮されない可能性がある
- 医療機器分野においては、ランダム化比較試験（RCT: Randomized Control Trial）に比べ、非ランダム化比較試験（non-RCT）によるデータが豊富である。しかし費用対効果評価で使用する有効性・安全性・QOL値などは、原則としてRCTデータが優先されるため、臨床実態が評価に反映されないことが懸念される
- 情報公開が限られていた試行的導入において、企業と再分析グループの間で評価結果が異なった際に、その理由を明らかにするための労力やコスト増加が問題となった
- 試行的導入の総合的評価（アプレイザル）では、国民や患者を含めたマルチステークホルダーによる議論が十分とは言えず、倫理的・社会的側面が適切に評価されなかった可能性がある
- 明確なビジョンに基づいた、持続可能な医療システムを実現するための費用対効果評価のあり方に関する議論が期待される



グローバル専門家会合「あるべき医療技術評価（HTA）の未来像」

東京にて開催された国際医薬経済・アウトカム研究学会 アジア・太平洋学会（ISPOR Asia Pacific）2018に合わせ、当機構は9月12日に専門家会合を実施し、国内外の有識者によるHTAの現状についての議論がなされました。

参加者の主な発言

- HTAの実施が、患者へのより良い情報提供につながることを期待される（例えば、医薬品導入の適切なタイミングや、各々の患者に合わせた用法・用量などについて）
- 費用対効果評価の方法論や得られる結果の解釈については、患者や医療従事者の理解を広めることが重要。日本のメディアにおけるHTA分野の理解を深めるために、アカデミアが役割を果たすべき
- 医療技術においては、患者のアクセスが最も重要である。また、価値ある新技術の開発を促進するためには、企業にインセンティブを与えるとといった取り組みが求められる
- 患者のQOL向上につながる技術が開発されても、費用対効果が低いもしくは考慮ができない可能性がある。その結果、分析の手法によっては、医療技術の予見性を下げるリスクがある
- 総合的評価（アプレイザル）において、患者報告アウトカム（PRO: Patient Reported Outcome）、つまり主観的評価も含めるべきである
- HTAがコスト抑制のためだけに使われる例が国際的に見受けられる。しかしHTAは本来、医療技術を適切に評価することを目的に実施されるべきである

連続フォーラム第2回：制度化に向けた課題

～費用対効果評価導入による他制度との双方向的な影響や整合性～

第2回フォーラム（9月13日）では、費用対効果評価の実施に必要な政策的課題について、議論がなされました。

参加者の主な発言

- 社会的・倫理的などの多角的要素を加味した価格調整プロセスを実現するために、包括的なアプローチを検討すべき。つまり、現行のICERに基づく機械的・段階的なモデルではなく、支払い意思額といった指標を反映したより緩やかで柔軟な方式への改善が求められる
- HTAに関する専門用語・知識によるバリアが大きい。本分野のリテラシーを有する人材の教育、拡充が急務である
- 既存の薬価制度では、研究開発促進のために新薬への加算など、様々な取り組みがなされてきた
- 費用対効果評価の導入が、新薬導入における障壁となり、日本市場への展開が遅れる可能性がある
- 費用対効果評価による価格調整が与える影響について、ステークホルダー間で明確なコンセンサスを確立することが、政府によるスムーズな制度運用につながる



連続フォーラム第3回：国民の理解

～費用対効果評価が国民に与える影響や、これまでの議論に対する国民理解の促進～

第3回フォーラム（11月12日）では、HTA分野について国民理解を促進する方法について、意見交換が行われました。

参加者の主な発言

- 規制のため、企業は医薬品医療機器の効果に関する情報発信には制限がある。そのため、特定の製品に関する具体例を用いることができなく、一般国民に分かりやすく説明することは困難である
- 治療を行う際に、患者への医学的な価値と治療のコストや費用対効果についても説明すべきである
- 日本の医療では、いずれの治療を選択しても患者本人の費用負担に対する影響が少なく、結果的にHTAや医療コスト問題に関する国民の理解を阻んでいる
- 学校教育における社会保障制度の役割を再確認するとともに、増大する社会保障費について国民が具体的な議論する機会・場の創設が求められる
- 中医協での議論は、専門部会等からメディアを介して市民に伝えることが一般的であるが、海外のように、制度を検討・構築する側から市民への直接的な発信についても検討が求められる



Summary of Discussions in Past HGPI Meetings for the “Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability” Series

Since 2016, the Health and Global Policy Institute (HGPI) has organized expert meetings and exchanges of opinions based on the theme “Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability.” The following summary describes the exchanges of opinion that occurred at each of the five meetings that HGPI organized on this theme in FY2018.

Preparatory Meeting: “Issues Identified from the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment”

A preparatory meeting was held May 31, 2018 to identify priority issues for discussion through FY2018. As a result of this meeting, it was decided that three subsequent forums would be held on the themes of “Technical Issues,” “Issues Toward the Integration of HTA in the Healthcare System,” and “Public Understanding.”

Select Comments from the Meeting

- There is a need to reconsider the definition of HTA and explore its potential for balancing sustainable healthcare systems and innovation.
- There is a need to review Cost-Effectiveness Assessment approaches from academic, operational, and scientific perspectives. Reviews should also be undertaken on the role and framework of each process within Cost-Effectiveness Assessments, including re-analyses and appraisals.
- There is a need for comprehensive discussions and investigations into HTA utilization in other countries, in order to better apply and utilize the results obtained from Cost-Effectiveness Assessment in the existing healthcare system
- There is a need to create a system that could enable companies to actively undertake Cost-Effectiveness Assessment.
- There is a need to promote correct and simple communications about the impact of introducing Cost-Effectiveness Assessment to the public in order to enhance nationwide discussions.



First Forum: Technical Issues – “Analysis and Appraisal Issues Identified through the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment”

HGPI’s first forum related to HTA was held on July 19, 2018. This meeting brought together public and private stakeholders for an exchange of opinions on the technical issues faced in the trial introduction of cost-effectiveness assessments.

Select Comments from the Meeting

- The current method of adjusting prices means that big price differences can result from small variations in ICERs. It’s possible that this method does not give enough consideration to uncertainty in the ICER values.
- There exists much more non-randomized control trial (RCT) data than RCT data in the medical technology field, but in principle, RCT data is being prioritized for cost-effectiveness assessments. There is the possibility that assessments are not sufficiently considering real-world usage at medical facilities.
- As little information was made public related to the trial introduction of cost-effectiveness assessments, a great deal of work and costs were incurred to uncover the reasons why analysis results differed between companies and re-analysis groups.
- It cannot be said that there has been sufficient multi-stakeholder involvement (including public or patient involvement) in discussions about appraisals for the trial introduction of cost-effectiveness assessments. It’s possible that ethical and social factors are not being appropriately evaluated in the appraisal process.
- Discussions should keep in mind the goal of using cost-effectiveness assessments to help realize the sustainability of the entire healthcare system.



Global Expert Meeting: “The Future of Health Technology Assessment”

HGPI organized a Global Expert Meeting on September 12, 2018, to coincide with the ISPOR Asia Pacific Conference 2018, which was held in Tokyo. At this meeting, domestic and overseas experts discussed the state of HTA usage within Japan and abroad.

Select Comments from the Meeting

- There is the hope that HTA initiatives in Japan could encourage information sharing on matters such as what the best timing for the introduction of a new drug to a patient is, and what the most effective dosing for each patient subgroup might be.
- Doctor and patient education about HTA will be important in the future. Academia has a role to play in encouraging greater understanding of HTA in the Japanese media.
- The most important factor for any country when considering medical technology is patient access. It is also important to incentivize the creation of valuable new technology.
- There is the worry that even if medical technology is developed that increases patient quality of life (QOL), that technology might be deemed not cost-effective. There is the risk that HTA could reduce the predictability of medical technology development.
- Across the world, HTA has sometimes been thought of only as a cost containment method, but it should be thought of as a method to appropriately evaluate medical technology.

Second Forum: Issues Toward the Integration of HTA in the Healthcare System – “The Introduction of Cost-Effectiveness Assessment, Its Impact, and Compatibility with Other Systems”

HGPI’s second forum on HTA was held on September 13, 2018. Participants discussed policy measures required for the future implementation of Cost-Effectiveness Assessment.

Select Comments from the Meeting

- It is worth considering the use of a semi-scientific approach that incorporates considerations of social and ethical issues into price adjustments.
- There are many jargon- and knowledge-related barriers for people trying to understand HTA. Further personnel training and educational efforts are needed.
- The Japanese healthcare system already awards premiums to innovative new pharmaceuticals. There is the risk that cost-effectiveness assessments could pose an additional barrier to the introduction of new drugs, thereby causing industry to deprioritize Japan as a market for innovative products.
- Consensus among stakeholders about exactly how HTA should affect pricing would make it easier for the Government to make progress on the issue.
- It should be possible to incorporate patient reported outcome (PRO) measures in the appraisal process.



Third Forum: Public Understanding – “Increasing Public Awareness and Understanding on the Impacts and Benefits of Cost-Effectiveness Assessment”

HGPI’s third forum on HTA was held on November 12, 2018, and featured an exchange of opinions on how to engender public understanding about HTA and cost-effectiveness assessments.

Select Comments from the Meeting

- Legal regulations in Japan prohibit companies from talking about the effects of pharmaceuticals, which in turn makes it more difficult for companies to help explain cost-effectiveness assessments, as they cannot use examples mentioning specific pharmaceuticals in explanations.
- Doctors could help patients understand cost issues, but doctors in Japan tend to prioritize the merits that a drug might have for their patients over considerations for cost.
- Under the current healthcare system in Japan, no matter what drug is used, the cost burden for patients does not change much. This positive feature of the system has unfortunately made it harder to foster public understanding about cost-related issues like HTA.
- There are not enough opportunities for the public to debate what should be done to respond to the rising costs of healthcare.
- Overseas, HTA agencies make efforts to communicate directly with the public, and not just through the press. Other communication avenues are used as well – some countries also make social security system issues a required subject in their school systems.

