



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シリーズ」 2018年度の活動報告

日本医療政策機構 (HGPI: Health and Global Policy Institute)

“Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability” Series - 2018 Activity Report

Report by Health and Global Policy Institute (HGPI)

目次

エグゼクティブサマリー

本プロジェクトへご参加いただいた方々のリスト

各会合詳細について

- ◆ 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～」（2018年5月31日）
- ◆ 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～」（2018年7月19日）
- ◆ 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」（2018年9月12日）
- ◆ 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～」（2018年9月13日）
- ◆ 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～」（2018年11月12日）
- ◆ 専門家会合「日本の医療の未来と費用対効果評価」（2018年12月14日）

当機構について

当機構 寄附・助成の受領に関する指針

共催・協賛



Table of Contents

Executive Summary

Project Participants

Event Details

- ◆ Preparatory Meeting “Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability Series – Issues Identified from the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment” (May 31, 2018)
- ◆ First Forum: “Technical Issues-Analysis and Appraisal Issues Identified through the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment” (July 19, 2018)
- ◆ Global Expert Meeting: “The Future of Health Technology Assessment” (September 12, 2018)
- ◆ Second Forum: “The Introduction of Cost-Effectiveness Assessment, Its Impact, and Compatibility with Other Systems” (September 13, 2018)
- ◆ Third Forum: “Public Understanding – Increasing Public Awareness and Understanding on the Impacts and Benefits of Cost-Effectiveness Assessment – ” (November 12, 2018)
- ◆ Expert Meeting “The Future of Healthcare in Japan and Cost-Effectiveness Assessment” (December 14, 2018)

Introducing HGPI and its Mission

HGPI Guidelines on Grants and Contributions

Joint Sponsors and Supporters



背景

イノベーションの適切な評価と持続可能な保健医療システムの両立を実現し、効果的・効率的な医療制度の構築を進めることは、日本のみならず世界共通の課題である。医療を適切に評価するための取り組みが各国でなされており、例えば、医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）によって、医療資源の適切な配分が可能になると期待する声もある。

わが国でも、中央社会保険医療協議会（中医協）で、2012年度から議論が開始されるなど、HTA導入に向けて議論が重ねられてきた。2017年度には、費用対効果評価の試行的導入が実施され、2018年度も、今後の本格的導入に向けた議論が行われている。そのような中、当政策分野においては、産官学民一体による立場を超えた議論と、各ステークホルダーの役割についてコンセンサス形成を促進すべく、当機構も活動を重ねてきた。

2018年度は、マルチステークホルダー結集型の産官学民を巻き込んだ議論の場として、4回のラウンドテーブル形式のディスカッション、そして2度のシンポジウム形式の専門家会合を開催し、今後求められる視座・論点について整理した。

本報告書では、2018年度の取り組みについて取りまとめる。

議論を通して明らかになった論点

1. 予見性の担保 イノベーションの適切な評価

- ◆ 中央社会保険医療協議会（中医協）における費用対効果評価の議論は、医療システムを持続しつつ、適切にイノベーションを評価する仕組みの導入を検討するうえで好機であった
- ◆ 中医協での議論を踏まえ実施された、費用対効果評価の試行的な導入からは、多数の課題が明らかになり、多くの教訓を得ることができた
- ◆ 特に薬価をはじめとする制度の予見性の担保と、イノベーションの評価方法については、ステークホルダー間の意見に多くの相違がみられた
- ◆ 今後の費用対効果評価の本格的な導入に際して、継続的な議論や合意形成が期待される

2. 国民の理解

- ◆ 医療システムのあり方は長い年月を経て極めて複雑なものになった。そして、公的な医療サービスの存在が当然のものと考えられている中で、医療システムの全体像を理解することに対して国民の関心を得ることは困難である
- ◆ 情報化時代にあって、国民目線の政策決定が一層重要になってきており、2年に1度改定される診療報酬制度や3年に1度改定される介護報酬制度の見直しでは、意思決定の透明性が担保された議論が求められる
- ◆ 学校教育での社会保障制度に対する理解を促進するカリキュラムも検討されるべきである。また、医療従事者における医療の費用対効果評価についての理解も教育のなかに盛り込んでいく事が求められる

3. 費用対効果評価の本来の役割

- ◆ 現在は、費用対効果評価から得られる結果の活用範囲は薬価の加算に対する評価に限定されている。しかし、給付の可否、薬価以外の診療報酬制度本体部分への経済分析なども検討を続けていくことが重要である
- ◆ 日本の財政状況や人口動態を踏まえ、国民の意見を巻き込んだ科学的な根拠（エビデンス）に基づく、医療システムの持続に向け、費用対効果評価に関する積極的な検討が求められている

4. 技術的課題

- ◆ 医療技術評価において用いられる指標に絶対的な指標はなく、評価対象に合わせて柔軟な運用が大切である。そのため、意思決定方法についての議論とステークホルダー間のコンセンサスの形成には、引き続ききめ細やかな配慮が求められる
- ◆ 日本では、経済分析を実施できる人材の育成等が中長期的な課題である

5. 新時代を見据えた医療システム

- ◆ 医療システムを持続可能なものにするためには、時代に合わせた効果的・効率的な改革をしていくことが求められる
- ◆ 市民・患者・当事者の評価や訴えによる患者報告アウトカム（PRO: Patient Reported Outcome）、特定健康診査や診療報酬明細書などから得られるデータの分析に基づいて実施されるデータヘルス、リアルワールドデータ（RWD: Real World Data）の医療経済分析への応用、そして迅速な承認プロセスなどといった次世代型の医療システムの構築が求められる
- ◆ 公的保険システムがカバーすべき領域について、社会や患者・当事者が求めているニーズを明らかにし、限られた資源をどのように活用するか検討を重ねる必要がある

Executive Summary

The creation of efficient and effective healthcare systems to ensure a balance between innovation and sustainability is an important issue for every country across the world, including Japan. Efforts are being made country by country to appropriately evaluate medical treatments. Health Technology Assessment (HTA) is one way to gauge cost-effectiveness and ensure the optimal allocation of resources.

In Japan, since FY2012, there have been many discussions held on the introduction of HTA at the Committee for Cost-Effectiveness Assessment within the Central Social Insurance Medical Council (Chuikyo). A trial introduction of cost-effectiveness assessments was held in FY2017 and discussion on the full-scale implementation of these assessments continues in FY2018.

HGPI has worked to promote consensus on each stakeholder's role in this field of policy by bringing together stakeholders from academia, government, industry, and civil society to discuss the topic as peers.

In FY2018, HGPI gathered multiple stakeholders from academia, the Government, industry, and civil society for a series of four roundtable-style discussions and two symposium-style expert meetings to identify perspectives and key issues for the future.

This report is a summary of our activities in FY2018.

Issues identified through the FY2018 project

1. Appropriately assessing innovation to maintain predictability

- ◆ Discussions on cost-effectiveness assessments held at Chuikyo provided a good opportunity to consider the implementation of mechanisms that can appropriately evaluate innovation while ensuring the sustainability of healthcare systems.
 - ◆ Many challenges and lessons arose out of the trial introduction of cost-effectiveness assessments.
 - ◆ There was great discrepancy in stakeholder opinion concerning methods for assessing innovation to ensure systems are predictable, particularly with regard to the system for setting pharmaceutical prices.
 - ◆ Continuous discussions should be held and consensus should be built toward the full-scale introduction of cost-effectiveness assessments.
-

2. Public understanding

- ◆ Over the course of many years, the healthcare system has become extremely complex. For many, the existence of public healthcare services is a given. This, in part, makes it difficult to engage the public at the level needed to achieve widespread understanding of the entire healthcare system.
 - ◆ Transparency in policymaking has become all the more important in the information age. The decision-making process used every two years for the discussions held on the revision of medical service fees and every three years for the revision of nursing fees should be more transparent.
 - ◆ Lessons that promote an understanding of the social insurance system should be incorporated into the education system. Cost-effectiveness assessments should be covered in schools to build familiarity with the subject among healthcare professionals.
-

3. The original role of Cost-effectiveness assessments

- ◆ Currently, results from cost-effectiveness assessments are being used only to evaluate premiums on pharmaceutical prices. However, it will be important to consider the use of cost-effectiveness assessments in the future to evaluate other items such as decisions about insurance benefits, or when conducting economic analyses on aspects of the medical fee system outside of pharmaceutical prices.
 - ◆ Policymakers should take a proactive stance towards cost-effectiveness assessments in order to ensure the sustainability of the healthcare system based on scientific evidence in such a way that also takes Japan's economic situation, shifting demographics, and public opinion into account.
-

4. Technical issues

- ◆ None of the methods used when undertaking HTA are able to give absolute answers about the quality of the technology being assessed, so it is important to maintain flexibility in the assessment process. To that end, greater attention and consideration is needed for discussions on the decision-making process and consensus building.
 - ◆ Japan has relatively fewer skilled human resources that can conduct economic analyses. The development of human resources is a significant medium- to long-term issue.
-

5. The Future of the Healthcare System

- ◆ The creation of a sustainable healthcare system will require effective and efficient reforms.
 - ◆ The next-generation healthcare system will require the incorporation of a variety of solutions, including the use of Patient Reported Outcomes (PRO) that incorporate civil society, patient and stakeholder viewpoints into evaluations of technology, data health initiatives that make use of primary care visit data and claim data, analyses that make use of Real World Data (RWD), and expedited technology approval processes.
 - ◆ When considering the issues that the public insurance system should cover, it is important to continuously consider the needs of society, patients, and people affected by coverage decisions, and to undertake continuous discussions on how to make the most of limited resources.
-

本プロジェクトへご参加いただいた方々

本シリーズにおいて、2018年度に開催いたしました6つの会合には、多くの専門家の方々にご登壇を賜りました。ご見識とご経験の共有をいただきましたことに、心より感謝を申し上げます。

※本報告書では、発言内容と発言者が特定されないチャタムハウスルールのもと、議論された内容について、主催者側である当機構が論点を抽出し、取りまとめたものであり、必ずしも登壇した方々の意見を代表するものではありません。

登壇者：（五十音順・敬称略・所属役職はご登壇時のもの）

赤沢 学（明治薬科大学 公衆衛生・疫学研究室 教授）
天野 慎介（一般社団法人 全国がん患者団体連合会 理事長）
五十嵐 中（東京大学大学院 薬学系研究科 医薬政策学 特任准教授）
池田 俊也（国際医療福祉大学 医学部公衆衛生学 教授）
市川 衛（日本放送協会（NHK） 制作局 第1制作センター 科学・環境番組部 チーフ・ディレクター）
井上 幸恵（クレコンメディカルアセスメント株式会社 ディレクター）
今村 聡（日本医師会 副会長）
印南 一路（慶應義塾大学 総合政策学部 教授）
大西 佳恵（クリエイティブ・スーティカル株式会社 日本代表）
加藤 幸輔（エドワーズ ライフサイエンス株式会社 代表取締役社長）
鎌江 伊三夫（東京大学公共政策大学院 特任教授）
國頭 英夫（日本赤十字社医療センター 化学療法科部長）
河野 圭志（中外製薬株式会社 上席執行役員 渉外調査・グローバルヘルスポリシー担当）
小谷 秀仁（PHCホールディングス株式会社 代表取締役社長／最高経営責任者（CEO）兼最高技術責任者（CTO））
後藤 悌（国立がん研究センター中央病院 呼吸器内科）
古元 重和（厚生労働省 保険局 医療課企画官）
齋藤 信也（岡山大学大学院 保健学研究科 教授）
齋藤 直一（ヤンセンファーマ株式会社 インテグレイテッド・マーケットアクセス本部 ポリシーインテリジェンス部長）
坂巻 弘之（東京理科大学 経営学部 経営学科 教授）
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）
櫻本 恭司（厚生労働省 保険局医療課 課長補佐）
下妻 晃二郎（立命館大学 生命科学部 生命医科学科 教授）
田倉 智之（東京大学 大学院医学系研究科 医療経済政策学講座 特任教授）
武見 敬三（参議院議員）
田村 誠（一般社団法人 医療システムプランニング 代表理事／国際医療福祉大学大学院 特任教授）
中尾 浩一（社会福祉法人 恩賜財団 済生会熊本病院 院長）
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 ディレクター）
中村 洋（慶應義塾大学大学院 経営管理研究科 教授）
二木 立（日本福祉大学 相談役・名誉教授）
福田 敬（国立保健医療科学院 医療・福祉サービス研究部 部長）
眞島 喜幸（特定非営利活動法人 パンキャンジャパン 理事長）
三ッ林 裕巳（衆議院議員）
Michael Drummond（ヨーク大学 医療経済研究所 教授）
Chris Hourigan（米国研究製薬工業協会（PhRMA） 副委員長）
Rosanna Tarricone（SDAボッコーニ経営大学院 政府・保健・非営利部門 副学部長／ボッコーニ大学 社会政治学部 准教授）

Project Participants

HGPI was honored with the participation of many experts over the course of the six events held in FY2018 for this forum series. We wish to express our deepest gratitude to them for sharing their views and experience with us.

Please note: the meetings detailed in this report were held in accordance with the Chatham House Rule, which allows for public reporting of the content of discussions, but prohibits reporting on who made which statements specifically. While this report was created based on the main issues and ideas raised in our FY2018 meetings, the statements and opinions expressed do not necessarily represent the opinions of any one participant.

Participants: (titles omitted, in alphabetical order by last name)

Manabu Akazawa (Professor, Department of Public Health and Epidemiology, Meiji Pharmaceutical University)
Shinsuke Amano (Executive Director, Japan Federation of Cancer Patient Groups)
Michael Drummond (Professor, Centre for Health Economics, University of York)
Takashi Fukuda (Director, Department of Health and Welfare Service, National Institution of Public health)
Yasushi Goto (Department of Respiratory Medicine, National Cancer Center Hospital)
Chris Hourigan (Vice Chair, Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA))
Mamoru Ichikawa (Principal Program Director, Production Center I Science Programs Division, Program Production Department, Japan Broadcasting Corporation (NHK))
Ataru Igarashi (Associate Professor, Graduate School of Pharmaceutical Sciences, The University of Tokyo)
Shunya Ikeda (Professor, Graduate School of Medicine/Public Health, International University of Health and Welfare)
Satoshi Imamura (Vice-President, Japan Medical Association)
Ichiro Innami (Professor, Faculty of Policy Management, Graduate School of Media and Governance, Keio University)
Sachie Inoue (Director, Crecon Medical Assessment Inc.)
Isao Kamae (Project Professor, Graduate School of Public Policy, the University of Tokyo)
Kosuke Kato (Managing Director, Edwards Lifesciences Limited)
Shigekazu Komoto (Counselor for Policy Planning, Coordination, Health Insurance Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW))
Keiji Kono (Senior Vice President, Global Health Policy, External Affairs, Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.)
Hidehito Kotani (President, PHC Holdings Corporation)
Hideo Kunitoh (Division of Chemotherapy, Department of Internal Medicine, Japanese Red Cross Medical Center)
Yoshiyuki Majima (President, Pancreatic Cancer Action Network Japan)
Hiromi Mitsubayashi (Member of the House of Representatives)
Toshio Nagase (Director, Government Affairs, Gilead Science K.K.)
Hiroshi Nakamura (Professor, Graduate School of Business Administration, Keio University)
Koichi Nakao (President and Chief Executive Officer, Saiseikai Kumamoto Hospital)
Ryu Niki (Adviser and Professor Emeritus, Nihon Fukushi University)
Yoshie Onishi (Director, Japan Operations, Creativ-Ceutical K.K.)
Shinya Saito (Professor, Graduate School of Health Sciences, Okayama University)
Naokazu Saito (Chief, Policy Intelligence Division, Integrated Market Access Department, Janssen Pharmaceutical K.K.)
Hiroyuki Sakamaki (Professor, School of Management, Tokyo University of Science)
Naomi Sakurai (President, Cancer Solutions Co., Ltd.)
Yasushi Sakuramoto (Assistant Director, Medical Economics Division, Health Insurance Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW))
Kojiro Shimozuma (Professor, Department of Biomedical Sciences, Graduate School of Life Sciences, Ritsumeikan University)
Keizo Takemi (Member of the House of Councillors)
Tomoyuki Takura (Project Professor, Department of Healthcare Economics and Health Policy, Graduate School of Medicine and Faculty of Medicine, the University of Tokyo)
Makoto Tamura (Founder and CEO, Healthcare System Planning Institute / Research Professor, Graduate school of International University of Health and Welfare)
Rosanna Tarricone (Associate Dean, Government Health and Non Profit Division, SDA Bocconi School of Management / Associate Professor, Department of Social and Political Science, Bocconi University)

各会合の詳細

本セクションでは、2018年度に当機構が開催した4つのラウンドテーブル形式でのディスカッションと2つの専門家会合が開催された背景、登壇者・参加者、議論のポイントを当機構で取りまとめました。

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～(2018年5月31日)

本会合の背景

プレ会合では、当機構が2017年に開催したグローバル専門家会合で抽出された論点だけでなく、2017年度における費用対効果評価の試行的導入から浮かび上がった課題や教訓、好事例を再確認し、今後2018年度の連続フォーラムで取り組むべき優先課題を整理しました。

参加者（五十音順・敬称略）*

赤沢 学、天野 慎介、五十嵐 中、市川 衛、今村 聡、印南 一路、大西 佳恵、加藤 幸輔、河野 圭志、小谷 秀仁、後藤 悌、古元 重和、齋藤 信也、齋藤 直一、坂巻 弘之、田倉 智之、田村 誠、長瀬 敏雄、二木 立、眞島 喜幸

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

主に議論されたポイント

- ◆ 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、HTAの定義を再確認するとともに、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、倫理・社会的（アート）な視点と科学的（サイエンス）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険償還制度や承認制度に反映し、活用していくうえで、諸外国におけるHTAの活用方法の精査をはじめ、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むための仕組みづくりが求められる
- ◆ 費用対効果評価の導入が国民へ与える影響について、正確でわかりやすいコミュニケーションが求められ、国民的な議論を進めていく必要がある

議論が求められる3つの論点

プレ会合で得られた議論をもとに、下記3つの論点について継続的なラウンドテーブル形式での議論を実施する事となった

- ◆ 費用対効果評価の試行的導入で明らかになった技術的な課題および総合的評価（アプレイザル）のあり方について
- ◆ 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について
- ◆ 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について



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～(2018年7月19日)

本会合の背景

連続フォーラム第1回では、プレ会合で得られた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）のうち「技術的な課題」をもとに、ラウンドテーブル・ディスカッションが開催されました。

参加者（五十音順・敬称略）*

赤沢 学、池田 俊也、市川 衛、今村 聡、大西 佳恵、加藤 幸輔、河野 圭志、小谷 秀仁、古元 重和、齋藤 直一、桜井 なおみ、下妻 晃二郎、田倉 智之、長瀬 敏雄、中村 洋、福田 敬、眞島 喜幸

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

主に議論されたポイント

- ◆ 費用対効果評価に用いられる増分費用効果比（ICER: Incremental Cost-Effectiveness Ratio）の算出方法が異なることで結果に大きな差異が出ることもあるため、適切な費用対効果算定方法について合意形成が待たれている
- ◆ 医療機器分野は医薬品分野と比べてランダム化比較試験（RCT: Randomized Control Trial）のデータが少ない。しかし、費用対効果評価で使用する有効性、安全性、QOL値などは医薬品を対象に蓄積された研究に基づいており、原則としてRCTデータが優先されるため、臨床実態を評価に反映できない可能性がある
- ◆ 試行的導入では、企業と再分析グループのエビデンス戦略、使用するデータ、分析の枠組みに相違があり、評価結果が大きく異なった
- ◆ 情報の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で評価結果が異なった際にその理由を明らかにするまで時間を要した。また、総合的評価（アプレイザル）の議論は非公開であるため、対象疾患の特性や状況、倫理・社会的な要素が適切に反映されているか、第三者が判断することも困難であった
- ◆ 単なる価格引き下げ策としてではなく、価値に基づいた医療を提供することにより社会保障費全体の見直すなどの大き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



本会合の背景

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が開催されるタイミングに合わせて、会合を開催いたしました。国内外を代表する産官学民の有識者より、医薬品とは異なるアプローチが世界的にも模索されている医療機器分野におけるHTAについても活発な議論が交わされました。

参加者（五十音順・敬称略）*

五十嵐 中、桜井 なおみ、櫻本 恭司、中尾 浩一、田村 誠、三ッ林 裕巳、Michael Drummond、Rosanna Tarricone

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

基調講演1「海外の先行事例にみるHTAの経験と教訓」

Michael Drummond

HTAの3つの課題

- ◆ HTAの主な課題は、(1) 適切な比較の実施が困難であること、(2) 代替エンドポイントを使用しなければならないこと、(3) 治療の価値の評価が困難であること、の3つである
- ◆ 「治療法の比較」に関しては、比較対照の選択方法が論点である。通常は当該の国における最新の医療水準を考慮するとされているが、直接比較が可能な臨床試験データが必ずしも存在しないため、間接比較、複合的な治療方法との比較が必要となる
- ◆ 「代替エンドポイントの使用」については、代替エンドポイントの妥当性が論点である。「代替エンドポイント」は「最終エンドポイントを予測するためのバイオマーカーまたは中間エンドポイント」と定義されており、臨床試験で患者の長期的な追跡が不可能な場合に使用される。例えば、がんでは無増悪生存期間（PFS: Progression-Free Survival）や全奏成功率（ORR: Overall Response Rate）が代替エンドポイントとして用いられる。しかし、PFSやORRが、最終エンドポイントである全生存率（OS: Overall Survival）の良好な予測因子かどうかは議論が求められている。代替エンドポイントに基づいて医薬品・医療機器が承認される場合、疾患や技術領域によってはさらなる追跡研究が求められる
- ◆ 「治療の価値の評価」について、日本を含め多くの国が質調整生存年（Quality-adjusted life-year : QALY）を使用している。QALYの代わりに、臨床データを用いた評価システムを用いている国もある。フランスではこの方法を採用した独自のスコアリングシステムを使用している

社会制度の意思決定プロセスにおけるHTAの利用

- ◆ 成果に基づいたリスク負担のあり方についての合意（PBRSA: Performance-Based Risk Sharing Agreements）は、特定の患者集団を対象にして製品の使用実績を一定期間追跡し、達成された健康およびコストの成果に基づいて償還金額または償還範囲を決定するものであり、近年、諸外国で関心が高まっている



EUにおけるHTAの現状

- ◆ HTA分野におけるEU加盟国および連携国の（自主的）ネットワークであるEUnetHTAには、欧州30カ国、80以上のHTA機関が参加するが、HTAの手法、プロセス、手順はEU加盟国の組織によって異なっており、同一の技術について複数の組織で重複して評価が実施され、異なる勧告が出される状況がしばしば生じている

HTAに関するEU助成研究プロジェクトについて

- ◆ MedtechHTA（Methods for Health Technology Assessment of Medical Devices: a European Perspective）プロジェクトは、HTAの医療機器評価パラダイムの範囲内で、既存の手法の枠組みの改善を図ることを目的としている活動されている
- ◆ COMED（Pushing the Boundaries of Cost and Outcome analysis of Medical Technologies）は医療技術のコスト・アウトカム分析の適用範囲を拡大するプロジェクトであり、HTAと医療制度パフォーマンスの両方の枠組みの中で、医療技術のコストと結果の分析に用いられている既存の手法の分析を実施している
- ◆ こういった海外の経験から、日本ではどのような分析がもっとも適しているのか検討することができる



基調講演3「日本におけるHTAの現状-実際に行われている議論-」

五十嵐 中

日本のHTAの特徴（費用対効果評価の試行的導入時）

- ◆ 対象は新規製品ではなく、上市後の医薬品および医療機器であり、保険償還の判断ではなく、価格の調整に用いられる。また、HTAが適応されるのは加算の部分のみである。これは日本独自の方法である

日本のHTA制度の課題

- ◆ 総合的評価（アプレイザル）には費用対効果割合（CER：Cost-Effective-Ratio）や増分費用効果比（ICER: Incremental Cost-Effectiveness Ratio）では評価できない部分を補うという重要性があるにも関わらず、ICERを用いた直線的な価格の調整方法を採用したため、総合的評価（アプレイザル）において柔軟に価格を調整することが困難となった。また、総合的評価の重要性に対する国民の理解と参画が不十分である



パネルディスカッション「日本でのHTAのあり方：各領域に求められる役割」

現在の日本のHTA導入議論で見てきた展望や課題

- ◆ 日本における費用対効果評価の議論は、医療費削減のための道具としての側面に注目が集まっているが、「イノベーション」「医療経済の持続性」そして「医療技術（医薬品・医療機器等）への患者アクセス」の3つをどうバランスさせるかが課題である

技術的な課題について

- ◆ 分析を実施する際に、比較対照の設定やエビデンスの選び方が困難である。特に医療機器の場合は、医療者の技術の習熟や頻回の製品改良により有効性・安全性が高まることがあるため、不確実性の高い既存データをどのように評価するか、ガイドラインや方法論の改善が課題である

今後の日本でのHTA導入に向けて、各ステークホルダーが担うべき役割や課題解決の方向性

- ◆ 国民における理解・関与を促進するためのきっかけとして、臨床試験・臨床研究における患者・市民参画（PPI: Patient and Public Involvement）や患者報告アウトカム（PRO: Patient Reported Outcome）を促進していくことが求められる。費用対効果評価に関する議論により、患者のQOL（Quality of Life）への関心が高まっている。制度導入に伴い、副作用のコントロールや適切な治療選択などの充実が期待される



閉会の辞

三ッ林 裕巳

- ◆ 伸び続ける医療費は、日本だけでなく、世界中のすべての国にとって重要な問題である。コストやその他の要因を考慮した上で、良い医療サービスを市民や患者・当事者に届けるために、HTAに関する議論は立法府にとっても重要である。国民に透明性をもって伝えていく事が求められる



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～ (2018年9月13日)

本会合の背景

連続フォーラム第2回では、プレ会合で得られた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）のうち「制度化に向けた課題」をもとに、ラウンドテーブル・ディスカッションが開催されました。

参加者（五十音順・敬称略）*

池田 俊也、大西 佳恵、加藤 幸輔、鎌江 伊三夫、河野 圭志、古元 重和、齋藤 直一、坂巻 弘之、桜井 なおみ、田倉 智之、長瀬 敏雄、中村 洋、眞島 喜幸

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

主に議論されたポイント

- ◆ 加算の調整と、価値の評価は異なるものであるにも関わらず、加算の調整を価値の評価と呼ぶことに疑問が残る。試行的な導入における総合的評価（アプレイザル）について検討する委員会では、（1）市民や患者・当事者を含む多様な関係者の参加の可否が不透明であり、（2）企業側の意見表明に対する討議が必ずしも十分ではないという課題がある
- ◆ 「医療の質の向上」と「患者の生活の質の向上」は必ずしも一致しないにもかかわらず、薬価制度の抜本改革に向けた基本方針（概要版）では、「『国民皆保険の持続性』と『イノベーションの推進』を両立し、『国民負担の軽減』と『医療の質の向上』」といった「医療の質」と「医療費」にのみ注目している
- ◆ 現在の薬価制度では、詳細なルールが存在するため、他国に比較して予見性が保たれている。しかし、特例再算定や薬価制度の抜本的改革に伴う新薬創出加算の改定などにより、予見性・安定性の低下が課題となっている
- ◆ 試行導入されている費用対効果評価制度は、「保険収載後に実施されること」「保険収載品のうち加算が大きくかつ売上予想の大きいものが対象となること」「加算部分の検証のために実施され、結果は加算部分の調整に利用されること」が検討されている。加算が認められた製品に対して減算に向けた再検討要素の色合いが強く残る



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～(2018年11月12日)

本会合の背景

連続フォーラム第3回では、プレ会合で得られた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）のうち「国民の理解」をもとに、ラウンドテーブル・ディスカッションが行われました。

参加者（五十音順・敬称略）*

赤沢 学、市川 衛、井上幸恵、今村 聡、大西 佳恵、加藤 幸輔、鎌江 伊三夫、後藤 悌、古元 重和、桜井 なおみ、長瀬 敏雄、中村 洋、福田 敬、眞島 喜幸

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

主に議論されたポイント

- ◆ なぜ費用対効果評価を導入する必要があるのか、国民の理解が進んでいない。制度化を進めるにあたり当局は、偏ったイメージの拡散を防ぐとともに、メディアや国民の理解を促進するために丁寧な説明が求められる
- ◆ 国民皆保険による医療保険制度を持続的なシステムにしていくうえで、医療技術評価は無駄な医療を洗い出すためのツールとして活用できるとの見方がある。市民や患者・当事者それぞれの状態に合わせて適切な治療を当事者と医療現場でも選択する際のツールとしても将来的には活用が求められる
- ◆ 日本の医療現場では、医療提供者は患者のメリットを第一に考えるように教育されてきた。そのため、限られた資源の無駄を最小限に抑え効果的・効率的に運用するという認識が一般的ではない
- ◆ 過去の医療・薬価制度の改革における市民や患者・当事者参画は限定的である。主に医療提供者と医療機器・医薬品産業界の立場に近い議論が中心であったが、これからの議論にはより一層の当事者の意見を取り入れるべきである
- ◆ 医薬品・医療機器や医療サービスの費用について、国民の理解に繋がり得る情報発信が不足している場合がある。費用対効果評価の議論だけでなく、日本における医薬品医療機器や医療システム、そして市民や患者・当事者に向けた情報がどのような条件の下で成り立っているのか精査する必要がある



本会合の背景

2018年度に実施された5つの会合から得られた論点をもとに、産官学民の有識者より、費用対効果評価に関する継続的な議論からもたらされた経験・教訓、そして持続可能な医療システムでありイノベーションをいかに評価していくのかについて、活発な議論が行われました。

参加者（五十音順・敬称略）*

中村 洋、鎌江 伊三夫、國頭 英夫、黒川 清、古元 重和、桜井 なおみ、武見 敬三、Chris Hourigan

*詳細は「本プロジェクトへご参加いただいた方々」を参照

開会の辞

黒川 清

世界的な課題

- ◆ 「地球温暖化」や「持続可能な開発目標（SDGs: Sustainable Development Goals）」と並び「高額化する医療費」は21世紀の大きな挑戦課題の1つといえる。人類の歴史上初めて直面している高齢社会の課題に対し、いかに人々のコンセンサスを得ながら対応していくか世界から注目されており、マルチステークホルダーによる透明性の担保された議論が求められる



基調講演 1 「医療システムの持続可能性とその未来」

中村 洋

両立において重要な3つのポイント

- ◆ （1）無駄な薬剤費を減らし、革新的新薬の研究開発促進のための原資を確保が求められる。そのためには、「ジェネリック医薬品のシェア拡大」「適正使用のさらなる推進」「残薬・多剤併用解消」のような薬価薬剤費上昇抑制政策を進めることによって革新的な新薬の研究開発に対する政策的なインセンティブ付与のための予算を確保が重要である
- ◆ （2）研究開発の原資となる企業利益が急激に低下することを避けるために段階的な政策介入が求められる。また、薬価に関する課題が明らかになった際には、薬剤費上昇抑制政策を的確なタイミングで実行し企業意識の改革にも取り組むことが可能になる
- ◆ （3）医療保険財政をコントロールしていくうえで、価格調整だけでなく使用される医薬品の量的抑制もバランスよく取り組むことが医療システムの持続可能性を考えた際には重要である

費用対効果評価から見える未来への視点

- ◆ 費用対効果評価は、保険償還を制限するのではなく、費用対効果の悪い医薬品の費用対効果を改善し、保険適用を維持させ得る取り組みである。試行的導入においては多くの時間と費用を要していた。費用対効果評価自体の費用対効果を中長期的に向上させることが求められる



日本における費用対効果評価

- ◆ 日本の費用対効果評価は、薬価制度の一部として位置づけられている。試行的な導入では、ドラッグ・ラグへの影響を考慮し、薬価収載後の価格調整に用いていることとなっている。また、保険収載可否の判断には使用されていなく、希少疾患や代替治療のない医薬品は対象外となっている

将来に向けた展望

- ◆ 制度設計に向けた対象品目の範囲、価格調整方法、評価プロセスといった技術的な課題をクリアし、人材の育成、体制の強化、分析に必要なデータを入手するための方策などの医療技術評価の体制強化に向けた取り組みを推進している



パネルディスカッション「費用対効果評価の課題と未来～日本独自の試みに向けて～」

費用対効果評価の特殊性

- ◆ 分析方法については、日本独自の手法を導入するにあたり、科学（サイエンス）としての議論と倫理・社会（アート）としての議論を切り分けたうえで議論を行うことが求められる

費用対効果を実施する意義

- ◆ 医療サービスに対して費用対効果の分析を実施することについては、反対する声はない。しかし、社会制度を作り上げていくうえで、価値観が異なるステークホルダー間の理解度を知ったうえで、コンセンサスを得ていくことが課題である

費用対効果を実施する意義

- ◆ 費用対効果評価が市民や患者・当事者に与える影響に対しては不透明な部分が多く、期待と不安が入り混じっている。制度形成に当事者の視点が盛り込まれている欧米のように、当該疾患の治療経験を有する当事者が議論に参加することが求められる

費用対効果評価が医療費全体に与える影響

- ◆ 医療費全体の2割に過ぎない薬価の加算部分のみを対象とした費用対効果の議論だけでなく、本体価格部分の費用対効果についても中長期的に対応することが求められる



限定的な市民や患者・当事者の参画と患者間における認識の多様性

- ◆ 高額医療費制度により市民や患者・当事者の負担は安定しているため、病院側は高い薬剤を処方したほうが収益につながる場合がある。また、医療従事者へのコスト教育も不足していた。そのため、現行の制度では医師と患者の間に治療に対して社会が負担しているコストについてコミュニケーションが限定的である

コストに対する意識とコミュニケーション

- ◆ 高額医療費制度により市民や患者・当事者の負担は安定しているため、病院側は高い薬剤を処方したほうが収益につながる場合がある。そのため、現行の制度では医師と患者の間に治療に対して社会が負担しているコストについてコミュニケーションを取るインセンティブが働きづらい

日本の医療システムにおける費用対効果評価とその未来

- ◆ 医療費が高騰する要因は、医療技術の高度化と人口の高齢化である。これら要因は、社会全体の変化によって生じており、不可避の事象であるとも言える。先送りの議論を続け破綻を待つのではなく、なんらかの方法で医療サービスの給付の可否について議論をすることが必要である
- ◆ 日本の費用対効果評価の現状は、世界に類を見ない独自の政策的な取り組みとなっている。そのなかでも、患者の有効性・安全性に重きを置きつつ、不確実性を制度的に考慮するための総合的評価（アプレイザル）をより重要視することが重要である
- ◆ 費用対効果評価の議論は、薬価制度の狭い枠内での予算の使い方を考えるだけでなく、より広い社会制度における議論が求められる。中医協における費用対効果評価の本格導入において同意が得られた後も、継続的な議論が重要である



閉会の辞

武見 敬三

導入に向けたマルチステークホルダーによるコンセンサス形成

- ◆ 医療システムの費用対効果に関する議論は諸外国では10年以上前から取り組まれており、成功例だけでなく失敗例についても学ぶことが重要である
- ◆ 日本国内で費用対効果の分析の為に体制づくりが進んでいるが、データベース等から得られるエビデンスに基づいて政策策定することが益々求められる
- ◆ 複雑な分析の枠組み設定において、日本の医療システムの価値がどこにあるのか踏まえた上で、費用対効果評価のあり方について可能な限り合意を形成し、実際の政策決定に組み込まれることが求められる



Meeting Summaries

The following section summarizes the matters discussed at the four roundtable discussions and two expert meetings held by HGPI in FY2018.

Preparatory Meeting “Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability Series – Issues Identified from the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment” (May 31, 2018)

Meeting background

During this FY2018 preparatory meeting, HGPI introduced topics provided at the global expert meeting series held in FY2017. HGPI arranged topics by priority for discussion in the series of forums for FY2018 after reviewing challenges identified, lessons learned, and best practices discovered during the FY2017 trial introduction of cost-effectiveness assessments.

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Manabu Akazawa, Shinsuke Amano, Yasushi Goto, Mamoru Ichikawa, Ataru Igarashi, Satoshi Imamura, Ichiro Innami, Kosuke Kato, Shigekazu Komoto, Keiji Kono, Hidehito Kotani, Yoshiyuki Majima, Toshio Nagase, Ryu Niki, Yoshie Onishi, Naokazu Saito, Shinya Saito, Hiroyuki Sakamaki, Tomoyuki Takura, Makoto Tamura

*For more detailed information, please see the list of project participants

Main points discussed

- ◆ There is a need to reconfirm the definition of HTA, and based on that, have further discussion on how HTA can be used to balance the sustainability of the healthcare system with the costs of promoting innovations. There is a need for further discussion on the methods being used from cost-effectiveness assessments, both from an ethical and social (“artistic”) perspective, and a scientific perspective. Japan should rethink roles and frameworks being used for secondary analyses and the overall appraisal stage of the process that occurs after the initial cost-effectiveness assessment.
- ◆ There is a need to reflect the results of cost-effectiveness assessments into the existing insurance reimbursement system and the pharmaceutical and device approval process, and having done so, a comprehensive debate and inspection should then be undertaken on this topic, including on the ways that HTA is being used overseas.
- ◆ A framework that enables industry to actively conduct cost-effectiveness assessments itself should be built.
- ◆ Accurate, easy-to-understand information on the effects of implementing cost-effectiveness assessments on the public must be provided to the public, and public discussions on the subject must be held.

Three key issues for further discussion

The preparatory meeting identified the following three key issues to cover at the series of roundtable discussions:

- ◆ Technical and appraisal-related issues identified through the trial introduction of cost-effectiveness assessment
- ◆ The introduction of cost-effectiveness assessments, its impact, and compatibility with other systems
- ◆ Increasing public awareness and understanding on the impacts and benefits of cost-effectiveness assessments



First Forum: “Technical Issues-Analysis and Appraisal Issues Identified through the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment” (July 19, 2018)

Meeting background

Based on the three topics identified as crucial issues at the preparatory meeting (technical issues, issues for institutionalization, and public understanding), the first forum discussed the topic of “technical issues.”

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Manabu Akazawa, Takashi Fukuda, Mamoru Ichikawa, Shunya Ikeda, Satoshi Imamura, Kosuke Kato, Shigekazu Komoto, Keiji Kono, Yoshiyuki Majima, Toshio Nagase, Hiroshi Nakamura, Yoshie Onishi, Naokazu Saito, Naomi Sakurai, Kojiro Shimozuma, Tomoyuki Takura

*For more detailed information, see the list of project participants

Main points discussed

- ◆ The Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER) used in cost-effectiveness assessments can vary greatly depending on the calculation method used. There should be consensus on which method is appropriate for determining ICERs.
- ◆ Compared to the field of pharmaceuticals, there is relatively less randomized control trial (RCT) data available for medical devices. However, measures used during cost-effectiveness assessments such as those related to validity, safety, and QOL generally prioritize data from RCTs. There is the possibility that evaluation results do not accurately reflect actual clinical conditions.
- ◆ For the trial introduction of cost-effectiveness assessments, the private sector and secondary analysis groups each made use of different strategies with regard to evidence, data, and analysis frameworks. This led to drastically different assessment results.
- ◆ Only a limited amount of information was made public during the trial introduction. This made it more time-consuming to determine the causes of differences in assessment results between the private sector and secondary analysis groups. In addition, discussions about the overall appraisal process were not open to the public, making it more difficult to determine, from a third-party perspective, how appropriately certain elements, such as the characteristics and unique situations of patient groups, or ethical and social factors, were reflected in appraisal results.
- ◆ It is hoped that future discussions will focus on how to best utilize cost-effectiveness assessments to realize sustainability in the healthcare system based on a compressive vision that doesn't just aim to lower merely prices, but works to rethink the social insurance costs as a whole through the provision of evidence-based healthcare.



Meeting background

This Global Expert Meeting coincided with the ISPOR Asia Pacific Conference 2018. Domestic and overseas experts from academia, government, industry, and civil society came together to hold a lively discussion as part of the global effort to utilize HTA in the medical devices field with a different approach than for pharmaceuticals.

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Michael Drummond, Ataru Igarashi, Hiromi Mitsubayashi, Koichi Nakao, Naomi Sakurai, Yasushi Sakuramoto, Makoto Tamura, Rosanna Tarricone

*For more detailed information, see the list of project participants

Keynote Address 1 “HTA Experiences Overseas—Key Lessons Learned”

Michael Drummond

Three challenges when undertaking HTA

- ◆ There are three main challenges when undertaking HTA:
 - (1) the difficulty of conducting appropriate comparisons between therapies,
 - (2) decisions about which surrogate endpoints are appropriate in analyses, and
 - (3) decisions about the actual value of medical treatments.
- ◆ The normal comparator in an analysis should be the current standard of care in the jurisdiction in question. It may not always be possible to do a head-to-head clinical comparison between a new pharmaceutical and the standard of care. The use of statistical methods may be necessary to simulate that comparison.
- ◆ The central topic concerning the use of surrogate endpoints is their validity. Biomarkers and so on are often used to define finite endpoints. For example, with cancer studies, Progression-Free Survival (PFS) and Overall Response Rate (ORR) are often used as surrogate endpoints. However, there is some debate about whether these endpoints are really good predictors of overall survival. When pharmaceuticals or medical devices are approved using surrogate endpoints, further follow-up research may be needed, depending on the disease and technical field.
- ◆ Many countries, including Japan, are using Quality-Adjusted Life-Year (QALYs) to determine the value of medical treatments. Other countries are assessing the clinical added-value of treatments not using QALYs, but other measures. France, for example, has its own alternative scoring system.

The use of HTA in the decision-making process for social systems

- ◆ With Performance-Based Risk Sharing Agreements (PBRSA), the amount reimbursed for a treatment is determined by its ability to improve health or lower costs over a specific time period. This system has gained increased attention overseas in recent years.



The current state of HTA in Europe

- ◆ With over 80 organizations in 30 countries participating in EUnetHTA, member countries and partners of the EU are engaged in widespread voluntary cooperation in the field of HTA. However, since HTA methods, processes, and procedures vary across organizations in the EU member countries, different organizations often provide different recommendations even when using identical assessment techniques.

HTA research projects funded by the EU

- ◆ The Methods for Health Technology Assessment of Medical Devices: A European Perspective (MedtecHTA) project is underway with the goal of improving existing methods and frameworks for medical technology evaluation paradigms within HTA.
- ◆ Pushing the Boundaries of Cost and Outcome analysis of Medical Technologies (COMED) is a project aiming to expand the scope of usage of medical technology cost and outcome analysis within the frameworks of both HTA and healthcare system performance. It analyzes existing evaluation methods of the costs of medical technologies and their results.
- ◆ Such experiences overseas may help to suggest which analysis methods are best suited to Japan.



Keynote Address 3 “Efforts Aimed at Introducing HTA in Japan”

Ataru Igarashi

Characteristics of HTA in Japan during the trial introduction of cost-effectiveness assessments

- ◆ The cost-effectiveness assessment system in Japan targets pharmaceuticals and medical devices already on the market, not new products. Cost-effectiveness assessments are also being used not to make decisions about insurance reimbursements, but to make adjustments to prices. Furthermore, HTA is only being applied to the premiums awarded on top of pharmaceutical prices. This methodology is unique to Japan.

Challenges for Japan’s HTA system

- ◆ The value of the overall appraisal stage of the HTA process is that it provides an opportunity to evaluate technology in light of factors that cannot be measured by Cost-Effective-Ratios (CERs) and Incremental Cost-Effectiveness Ratios (ICERs). However, because at the current time, premiums are being adjusted by comparing ICER values to a linear threshold, there is little room for flexibility in the price adjustment decision at the overall appraisal stage. Furthermore, not enough is being done to encourage public understanding about the importance of the appraisal stage.



Panel Discussion “HTA in Japan—The Roles Required of Various Sectors”

Views and challenges observed in current discussions concerning the introduction of HTA in Japan

- ◆ Discussions on cost-effectiveness assessments in Japan have focused on its potential as a tool for reducing healthcare costs. In the future, it will be important to discuss how to use HTA to ensure innovation, the sustainability of healthcare, and the accessibility of pharmaceuticals and medical devices.

Technical challenges

- ◆ It is difficult to make appropriate decisions on the selection of appropriate cases and controls, and what analytical methods to use when conducting a cost-effectiveness assessment. For assessments of medical devices in particular, devices may appear enhanced due to the technical skill of the operating healthcare professional, or improvements to the device itself. Further guidelines and the improvement of methodology is needed in relation to issues such as how to do evaluations given the high uncertainty of available data.

Next steps for the future introduction of HTA in Japan – stakeholder roles and the course of action for problem-solving

- ◆ To create opportunities to promote public understanding and participation, Patient and Public Involvement (PPI) and Patient Reported Outcomes (PROs) in medical research and clinical trials should be promoted. Also, the promotion of cost-effectiveness assessments discussions has increased awareness towards patient Quality of Life (QOL). It is hoped that the full introduction of HTA could lead to the creation of the data and evidence needed to help make it easier for medical practitioners to better select treatments while controlling for side-effects, and potentially give patients access to a wider range of treatment options.



Closing remarks

Hiromi Mitsubayashi

- ◆ The problem of continuously increasing healthcare costs is not just an issue for Japan, but for every country worldwide. The debate on HTA is important for policymakers as we work to ensure that the healthcare system can provide high quality services to patients and the people that need those services, while also taking into account issues of cost and other matters. Greater transparency is needed in the information on the healthcare system that is communicated to the public.



Second Forum: “The Introduction of Cost-Effectiveness Assessment, Its Impact, and Compatibility with Other Systems” (September 13, 2018)

Meeting background

Based on the three topics identified as crucial issues at the preparatory meeting (technical issues, issues for institutionalization, and public understanding), the second forum discussed the topic of “Issues for institutionalization.”

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Shunya Ikeda, Isao Kamae, Kosuke Kato, Shigekazu Komoto, Keiji Kono, Yoshiyuki Majima, Toshio Nagase, Hiroshi Nakamura, Yoshie Onishi, Naokazu Saito, Hiroyuki Sakamaki, Naomi Sakurai, Tomoyuki Takura

*For more detailed information, please see the list of project participants

Main points discussed

- ◆ Adjustments to premiums are not the same as evaluations of prices, and it is problematic to talk about these two issues as if they are the same. There are two main issues facing the committee at Chuikyo that is discussing the appraisal process within the trial introduction of cost-effectiveness assessments: (1) it is unclear if various related parties, including members of the public, are allowed to participate in discussions; and (2) the opportunities for the private sector to express its opinion are not necessarily sufficient.
- ◆ Despite the fact that improvements to healthcare quality and improvements to patient QOL do not necessarily coincide with one another, the outline version of the Basic Policy for Fundamental Reform of the Drug Pricing System mentioned accommodating both a “sustainable universal healthcare system” and the “promotion of innovation” while achieving a “decrease in the public burden” and an “improvement of medical quality.”
- ◆ The current pharmaceutical pricing system uses very specific rules, making it easier to predict profitability compared to other countries’ systems. However, the system is growing less stable and more unpredictable due to reforms in the way that premiums for new pharmaceuticals are calculated following fundamental reforms of the pharmaceutical repricing and pricing systems.
- ◆ With the trial introduction of cost-effectiveness assessments, assessments were done on pharmaceuticals already listed in the NHI Drug Price Standard. Listed items with high premiums and high projected sales were assessed, and the assessment results were used to adjust the premiums. For products that were assigned premiums, there is the strong impression that reassessment parameters were selected to lower premiums.



Third Forum: “Public Understanding – Increasing Public Awareness and Understanding on the Impacts and Benefits of Cost-Effectiveness Assessment –” (November 12, 2018)

Meeting background

Based on the three topics identified as crucial issues at the preparatory meeting (technical issues, issues for institutionalization, and public understanding), the second forum discussed the topic of “public understanding.”

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Manabu Akazawa, Takashi Fukuda, Yasushi Goto, Mamoru Ichikawa, Satoshi Imamura, Sachie Inoue, Isao Kamae, Kosuke Kato, Shigekazu Komoto, Yoshiyuki Majima, Toshio Nagase, Hiroshi Nakamura, Yoshie Onishi, Naomi Sakurai

*For more detailed information, see the list of project participants

Main points discussed

- ◆ The public does not yet understand why cost-effectiveness assessments are necessary. As Japan works toward the full introduction of cost-effectiveness assessments, care must be taken to prevent the spread of misconceptions. At the same time, an easy-to-understand explanation of cost-effectiveness assessments should be provided to promote understanding among the media and the public.

In addition to its utility for the creation of a sustainable national health insurance system, HTA is one tool for the discovery of waste in the medical field. In the future, it should also be used as a tool by people receiving healthcare and healthcare facilities to help the public, patients, and other stakeholders receive the best possible treatments for their situations.

- ◆ Healthcare providers are trained to prioritize patient benefit above all else. As a result, the importance of minimizing the waste of limited resources while being effective and efficient is not widely recognized.
- ◆ Involvement by the public, patients, and stakeholders during the planning process when conducting reforms of healthcare and pharmaceutical pricing in the past was limited. Discussion was mainly held from the viewpoints of healthcare providers and professionals in the medical device and pharmaceuticals industries. Future discussions should take a step further and implement the viewpoints of the people most affected by reforms.

There are times when the communication of information about the costs of pharmaceuticals, medical devices, and medical services is insufficient. This does not only apply to discussions on cost-effectiveness assessments. There needs to be a careful examination of the conditions placed on information communicated to stakeholders in civil society concerning pharmaceuticals, medical devices, and the healthcare system.



Meeting background

Based on issues raised at the previous five forum meetings in FY2018, experts from industry, government, academia, and civil society held an active discussion on experiences and lessons learned during ongoing discussions on cost-effectiveness assessments. They also discussed methods to further evaluate innovation within sustainable healthcare systems in the future.

Participants (in alphabetical order by last name; titles omitted)*

Chris Hourigan, Isao Kamae, Shigekazu Komoto, Hideo Kunitoh, Kiyoshi Kurokawa, Hiroshi Nakamura, Naomi Sakurai, Keizo Takemi

*For more detailed information, please see the list of project participants

Opening remarks

Kiyoshi Kurokawa

Global challenges

- ◆ The issue of rising healthcare costs is one of the major challenges for the 21st century, together with global warming and the achievement of the Sustainable Development Goals (SDGs). For the first time in history, we are now dealing with the issues of a super-aging society. How to undertake consensus building while responding to these issues is a challenge facing the entire world. Further discussions with multiple stakeholders must be held in a consistently transparent manner.



Keynote Address 1 “Current Issues and the Future Outlook for the Sustainability of the Japanese Healthcare System”

Hiroshi Nakamura

Three key issues for the balancing of health system sustainability and innovation

- ◆ (1) Wasteful pharmaceutical expenditures must be curbed and the resources needed to pursue research and development on new groundbreaking pharmaceuticals must be secured. To achieve this, it is important to secure a budget to incentivize research and development. This can be achieved by pursuing policies that can controlling increasing drug-related expenditures, such as by expanding the market share of generic pharmaceuticals, further promoting pharmaceutical stewardship, or reducing pharmaceutical wastage and redundant prescribing.
- ◆ (2) Corporate profits drive research and development. In order to avoid sudden drops in profitability that might threaten research and development funds, it is important to introduce policy interventions in a step-wise manner. It is when people clearly recognize that there are problems with pharmaceutical pricing that it is possible to implement policies to control those prices, and to work toward the reform of corporate thinking about this issue.
- ◆ (3) When working to control national health insurance costs, it is important to consider the balance between adjustments to prices and quantitative controls on the pharmaceuticals.

On the future of cost-effectiveness assessments

- ◆ Cost-effectiveness assessments are not just a tool to control insurance reimbursements. They are a tool to evaluate the cost-effectiveness of pharmaceuticals so they can maintain their insurance eligibility. The trial introduction of cost-effectiveness assessments consumed great amounts of time and money. In the medium to long term, it will be necessary to improve the cost effectiveness of cost-effectiveness assessments.



Cost-effectiveness assessments in Japan

- ◆ Cost-effectiveness assessments in Japan are positioned as a part of the national health insurance pharmaceutical pricing system. For the trial introduction of these assessments, they are being used to adjust prices for already listed drugs, in consideration of the impact the assessments might otherwise have on drug lag. Assessments are not being used for decisions about whether to list a drug, and orphan pharmaceuticals, as well as pharmaceuticals for which there is no substitute, are not eligible for examination using cost-effectiveness assessments.

Future outlook

- ◆ Japan is working to clear technical hurdles – such as deciding on the scope of the HTA system, methods for adjusting prices, and the overall evaluation process – and moving forward with initiatives to strengthen that system, including by creating policies that promote the development of human resources, and the collection of the data necessary to conduct analyses.



Panel Discussion: “Issues and Future of cost-Effectiveness Assessments – Toward a Unique Endeavor by Japan”

The special characteristics of Cost-effectiveness assessments

- ◆ With regard to discussions on the methodology used for analyses as Japan attempts to create its own unique HTA system, there needs to be a clear understanding of whether the system is being debated from a science-based perspective or a policy-based perspective in the future.

The significance of implementing cost-effectiveness assessments

- ◆ There is no opposition to the notion of examining the cost-effectiveness of healthcare services. However, it is nevertheless important that initiatives to create social systems be based on an understanding of the different values of each stakeholder and an effort to build consensus.

Points of concern

- ◆ There are still many unclear elements concerning the impact of cost-effectiveness assessments among the public, patients and stakeholders, which creates both anticipation and unease. When systems were built in Europe and in the United States, consideration was given to the viewpoints of the public. There is a need to include people who have actually experienced the illnesses in question in policy discussions.

The effects of cost-effectiveness assessments on total medical fees

- ◆ Discussions should not only focus on the cost-effectiveness of pharmaceutical premiums, which amount to less than 20% of the entire cost of healthcare. Medium- to long-term discussions concerning the cost effectiveness of the main costs of the system should also be held.



Limited opportunities for civil society stakeholders to take part in planning, and the various levels of awareness among those stakeholders

- ◆ It is difficult to fully understand the mechanisms of action for drugs and medical devices, and the evidence behind their effectiveness, without having a high degree of specialized knowledge. This has resulted in differing opinions among the people whose diseases were assessed during the trial introduction. There is a large recognition gap among stakeholders in civil society about the outcomes of cost-effectiveness assessments.

Communication and awareness concerning cost

- ◆ Since the burden placed on citizens, patients and stakeholders is stabilized by the High-Cost Medical Expense Benefit, there are times when it is more profitable for hospitals to prescribe expensive pharmaceuticals. Efforts to educate doctors about costs have been insufficient. Altogether, these factors are impeding communication among medical practitioners, patients, and other stakeholders about the costs of treatment borne by society in the current system.

Cost-effectiveness assessments in the Japanese healthcare system and their future together

- ◆ Advances in medical technology and the aging of the population are causing sudden increases in healthcare costs. Rising costs are the inevitable result of changes in society. It is important to not just wait for the system to collapse, but to hold discussions now on the pros and cons of healthcare service benefits.
- ◆ The current state of the discussion around cost-effectiveness assessments in Japan reflects a political effort not seen anywhere else in the world.
- ◆ Given the circumstances, emphasis must continue to be placed on effectiveness and safety for patients, and uncertainties must be more rigorously examined from an institutional perspective during overall appraisal stage.
- ◆ The debate concerning cost-effectiveness assessments must not be confined to only the pharmaceutical pricing system, but developed into a larger debate about social systems in general. It is important that such discussions be held continuously, even after a consensus is reached on the full introduction of cost-effectiveness assessments at Chuikyo.



Closing remarks

Keizo Takemi

Developing consensus among multiple stakeholders

- ◆ Discussions on the cost effectiveness of healthcare systems have been held with various foreign countries for over a decade. It is important to not only learn from successful examples, but from examples of failure as well.
- ◆ Advances have been made related to the creation of a system for analyzing cost effectiveness domestically, but increasingly, policies are needed based on evidence accumulated in databases and elsewhere.
- ◆ When creating frameworks to undertake this kind of complex analysis, it is important to take into account the current values of Japan's healthcare system, and to build as much consensus as possible. That consensus should be reflected in the actual creation of policy.



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

- ・ 日本医療政策機構は「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だきません。

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。

About Health and Global Policy Institute (HGPI)

Health and Global Policy Institute (HGPI) is a Tokyo-based, independent, non-profit, and non-partisan health policy think tank established in 2004. Since its establishment, HGPI has been working to realize citizen-centric health policies by gathering together diverse stakeholders and developing policy recommendations. HGPI is committed to serving as a truly independent organization that can provide society with new ideas from a broad, long-term perspective in order to foster fair and healthy communities. HGPI looks forward to continuing to partner with people from all around the world as we continue our work for the development of effective health policy solutions for Japanese and global issues.

Guidelines on Grants and Contributions

As an independent, non-profit, non-partisan private think tank, Health and Global Policy Institute (HGPI) complies with the following guidelines relating to the receipt of grants and contributions.

Approval of Mission

- The mission of HGPI is to improve the civic mind and individuals' well-being, and to foster a sustainable healthy community by shaping ideas and values, reaching out to global needs, and catalyzing society for impact. The activities of the Institute are supported by organizations and individuals who are in agreement with this mission.

Political Neutrality

- HGPI is a private, non-profit corporation independent of the government. Moreover, we receive no support from any political party or other organization whose primary purpose is political activity of any nature.

Independence of Project Planning and Implementation

- HGPI makes independent decisions on the course and content of its projects after gathering the opinions of a broad diversity of interested parties. The opinions of benefactors are solicited, but the Institute exercises independent judgment in determining whether any such opinions are reflected in its activities.

Diverse Sources of Funding

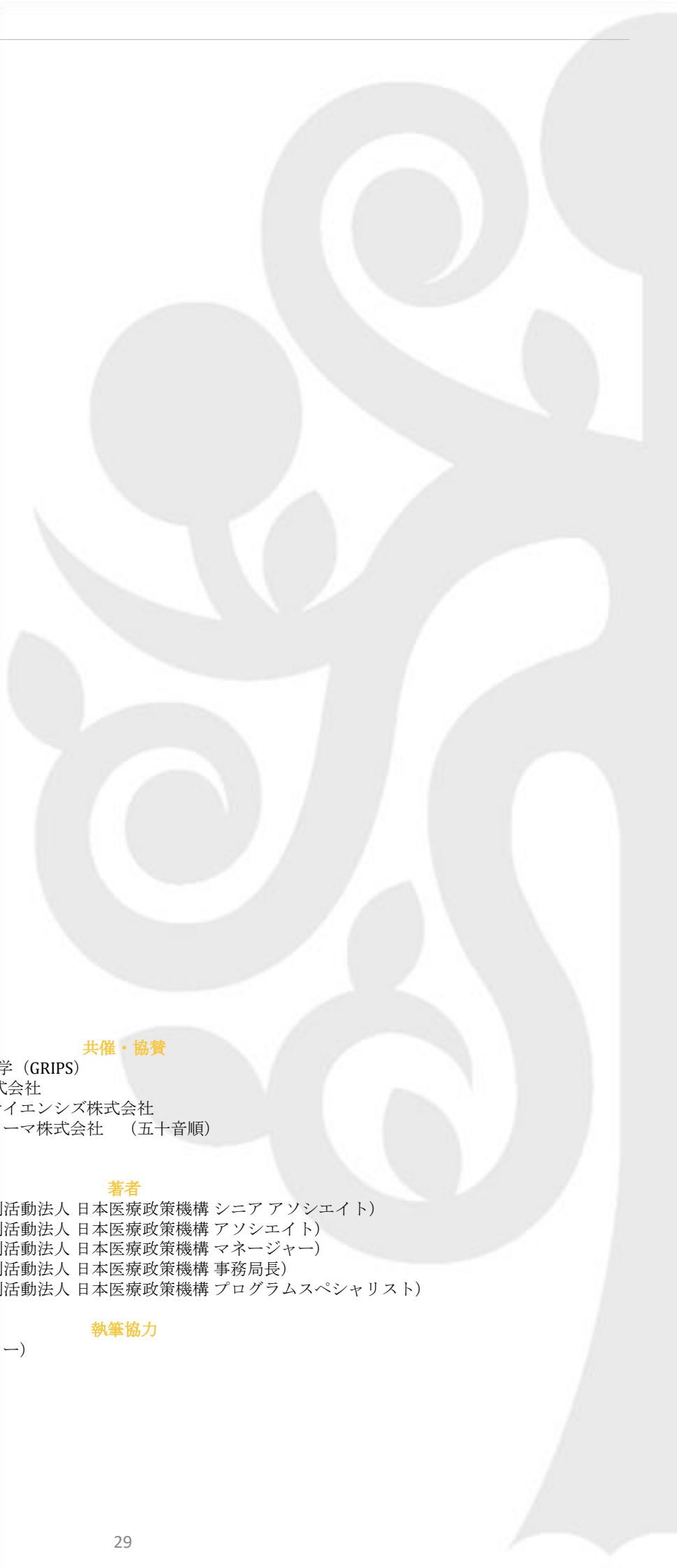
- In order to secure its independence and neutrality, HGPI will seek to procure the funding necessary for its operation from a broad diversity of foundations, corporations, individuals, and other such sources. Moreover, as a general rule, funding for specific divisions and activities of the Institute will also be sought from multiple sources.

Exclusion of Promotional Activity

- HGPI will not partake in any activity of which the primary objective is to promote or raise the image or awareness of the products, services or other such like of its benefactors.

Written Agreement

- Submission of this document will be taken to represent the benefactor's written agreement with HGPI's compliance with the above guidelines.



共催・協賛

共催： 国立大学法人 政策研究大学院大学 (GRIPS)
協賛： エドワーズライフサイエンス株式会社
 ギリアド・サイエンシズ株式会社
 ヤンセンファーマ株式会社 (五十音順)

著者

近藤 由衣子 (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 シニア アソシエイト)
菅原 丈二 (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 アソシエイト)
マカナニマツト (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 マネージャー)
乗竹 亮治 (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 事務局長)
吉田 友希子 (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 プログラムスペシャリスト)

執筆協力

福島 安紀 (医療ライター)

Co-organizer:
Sponsored by:

Partners (in alphabetical order)

National Graduate Institute for Policy Studies (GRIPS)
Edwards Lifesciences Corporation
Gilead Science K.K.
Janssen Pharmaceutical K.K.

Yuiko Kondo
Matt McEnany
Ryoji Noritake
Joji Sugawara
Yuki Yoshida

Authors (in alphabetical order by last name)

(Senior Associate, HGPI)
(Manager, HGPI)
(CEO, Board Member, HGPI)
(Associate, HGPI)
(Program Specialist, HGPI)

Aki Fukushima

Writing Support

(Medical Writer)

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

Health and Global Policy Institute (HGPI)

Grand Cube 3F, Otemachi Financial City, Global Business Hub Tokyo
1-9-2, Otemachi, Chiyoda-ku, Tokyo 100-0004 JAPAN

Tel: 03-4243-7156 Fax: 03-4243-7378 E-Mail: info@hgpi.org