

# 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 ～プレ会合開催報告：議論のポイントと今後の論点～

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

## 趣旨

イノベーションと持続可能な保健医療を実現するための、効率的・効果的な医療制度の構築は、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）費用対効果評価専門部会で、2012年度からHTA導入に向けて議論が重ねられてきた。2016年度からは、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て、引き続き検討が重ねられる予定となっている。

日本医療政策機構では、2016年度から本テーマを継続的に取り上げ、2017年にもグローバル専門家会合を複数回開催し、議論の深化に貢献してきた。そのような論点抽出の場においては、世界的潮流でもあるHTA導入に向けた関係者の努力が評価される一方で、再分析の実施方法やコミュニケーションのあり方、評価計算方式などの技術的視点、議論の透明性の担保や国民への説明責任などについて、多くの課題も提起されてきた。

そこで、日本医療政策機構は、費用対効果評価の試行的導入から見えてきた課題や教訓、好事例の共有をはじめ、当政策分野で今後求められる視座について、2018年度も連続的にフォーラムを開催することで議論を深化させ、論点を抽出していくこととした。今回、2018年度の本シリーズキックオフとして、そもそも本年度議論すべき論点を産官学民のマルチステークホルダーで抽出し合意を図るべく、プレ会合を開催した。

プレ会合では、チャタムハウスルール\*を用いた産官学民によるラウンドテーブル・ディスカッションから、今後議論を重ねていくべき論点が挙げられた。以下の通り、議論のポイントを抽出したうえで、今後検討すべき論点を日本医療政策機構が取りまとめた。

\*チャタムハウスルールとは、発言者を特定しないことで話し手に匿名性を提供し、立場を超えた活発な議論に基づく情報の公開と共有を促進することを目的としたルールである

## 概要

**日時：**2018年5月31日（木）18:30-20:30

**会場：**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

**主催：**特定非営利活動法人 日本医療政策機構（HGPI）

**形式：**国内外を代表する有識者約20名によるラウンドテーブル

### プログラム：

- 18:30            開会（趣旨説明）：菅原 丈二（日本医療政策機構 アソシエイト）
- 18:40            ラウンドテーブル登壇者による冒頭発言
- 19:30            2018年連続フォーラムで議論すべきテーマやアジェンダについての議論



## ラウンドテーブル登壇者（五十音順・敬称略）：

|       |  |
|-------|--|
| 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）                         |
| 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）       |
| 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）                         |
| 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）                            |
| 後藤 倖  | （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 部長） |
| 坂巻 弘之 | （東京理科大学 経営学部 経営学科 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）                      |
| 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）                           |
| 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）                |
| 二木 立  | （日本福祉大学 相談役・名誉教授）                                    |
| 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）                            |

## モデレーター：

|        |                      |
|--------|----------------------|
| 乗竹 亮治  | （日本医療政策機構 事務局長）      |
| 近藤 由衣子 | （日本医療政策機構 シニアアソシエイト） |



## 主に議論されたポイント（詳細）

### ▶ 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

- 医薬品・医療機器や医療従事者によって国民へ提供されるサービスを評価する手法がHTAである。経済的な側面を取り出して議論する費用対効果評価は、そのひとつである
- 費用対効果評価によって、薬剤費のコントロールと同時にイノベーションを評価することが果たして可能なのか、本質的な議論をする必要がある
- 費用対効果評価導入による薬剤費削減効果は限定的との意見もあるため、費用対効果評価を薬価の価格調整の手法とする、現状の提案については、慎重な検討が求められる
- 早期診断、根治的な治療、社会復帰などを可能にする革新的な医薬品・医療機器は、医療費の削減につながるだけでなく、労働生産性を高めることにより新たな財源を生む可能性があり、HTAによる適切な評価が求められる
- 費用対効果評価から得られた結果は、臨床現場での患者や医療従事者の意思決定を促進することが期待される。そのため、医師を始めとした医療従事者の、議論への参加がより一層求められ、それによる分析結果のエビデンスレベルの向上も期待される
- 新医薬品・医療機器に対して、HTAを用いることで、安全性と有効性だけでなく、既存のものに対する優越性についても評価がなされ、研究開発費用が高額かどうかにかかわらず、国民皆保険にとって持続可能な価格算定が期待できる

### ▶ 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

- 費用対効果評価において、併存疾患・重症度・併用薬などを考慮すると、医薬品・医療機器に対して単一の増分費用対効果比（ICER: Incremental Cost-Effectiveness Ratio）を算出するには限界がある。このような点を考慮し、適切な評価方法を検討していく必要がある
- 疾患は多様であり、その重篤性も様々であるなか、すべての疾患について単一のICERで比較することには慎重な検討が求められ、例えば、極めて重篤な疾患については、ICERによる評価と同時に、倫理的・社会的評価の検討も求められる
- 医療機器は、改良サイクルが早いことや、医療従事者の技術の習熟度がアウトカムに影響を与えるなどの特性があり、これらを考慮した分析手法の開発が求められる
- 試行的導入で顕在化した技術的な課題や制度的な課題を、マルチステークホルダーで認識し、今後どのようなプロセスで解決していくのか議論が必要である
- 費用対効果評価において、分析結果のエビデンスレベルを高めるためには、厳密な評価が求められる第III相試験で、申請承認を目的とした有効性や安全性だけでなく、経済性の評価も考慮した試験計画を取り入れることも検討が期待される
- 費用対効果評価の結果を薬価の価格調整のみに用いる場合、倫理的・社会的側面を考慮する総合的評価（アプレイザル）は必要がないという意見もある。一方で、医療資源の適切な配分を見据えて、倫理的・社会的側面を考慮した総合的な評価手法を確立しておくべきという声もある。総合的評価（アプレイザル）の役割や、実施方法について、より一層の議論が求められる
- 費用対効果評価のプロセスは不確実性を有し、分析者の認識や見解の違いが生じやすいため、再分析グループと企業が対話する機会など、手法や枠組みの見直しが求められる
- イギリス以外の諸外国では、企業が提出したデータを専門家がレビューする（基本的に再分析は行わない）仕組みが一般的だが、日本の試行的導入では、企業が提出したデータを専門家が一から再分析したため、多大な労力がかかった。効率的な再分析方法の検討も期待される
- 試行的導入では、企業が提出した分析結果と再分析グループの結果が大きく異なった。そのような乖離の理由について、専門家を交えつつ透明性の高い議論が求められる



## ▶ 費用対効果評価から得られた結果を既存の保健医療システムに反映し、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

- 日本は英国、フランス、ドイツなどを参考に費用対効果評価を試行的に導入しているが、費用対効果評価結果を保険償還の可否の判断材料に用いるのか、または、価格の調整に用いるのかなど、反映方法は国によって異なる。制度化を進めるうえで、海外との違いや運用実情を考慮した検証が求められる
- 複雑に構築され運営されてきた日本の薬価制度に、ICERや支払い意思額などの不確実な値を用いる費用対効果評価を追加的に組み込むには、慎重な検証が求められる
- 理想的な条件下で得られた臨床試験のデータをもとに薬価を算定する現行の薬価算定方法に、医薬品・医療機器の価値を適正に評価するHTAを組み入れるのには限界がある。臨床試験後の費用対効果評価結果なども反映できる仕組みが期待される
- 費用対効果評価の制度化を進めていくには他制度との整合性を検討する必要がある、医薬品・医療機器の承認審査組織、保険者、医療機関などのステークホルダーを交えた議論が求められる

## ▶ 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

- 企業の費用対効果評価実施を促進していくには、企業が費用対効果評価に取り組む意義の明確化や、積極的に取り組むインセンティブの仕組みづくりが求められる
- 企業が費用対効果評価に向けて、データ提出に取り組むことは、対外的なアカウンタビリティを果たすことに役立ち、経営上のリスクヘッジとなる可能性もある。データ提出を促進する仕組みはどのように構築可能か、企業側との議論の深化が期待される
- 費用対効果評価に関するデータの収集・分析は、企業の規模、経験によって得られる結果に差がある。医薬品業界に比べて事業規模の小さい医療機器業界が費用効果評価を行ううえでのサポート体制についても検討が期待される
- 医薬品・医療機器の薬価算定時に、暫定的に価格を低く設定し、費用対効果評価の結果を用いて価格を引き上げるような、費用対効果評価への協力に向けたインセンティブが企業に働く制度づくりも、可能性として議論されてよい

## ▶ 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

- 費用対効果評価を導入する意義や影響について国民の理解を深めるために、正確で分かりやすい情報の発信が求められる
- 国民によって費用対効果評価に対する見解が異なり、国民間で対立が生じる可能性がある。メディアは世論に影響を与えるため、国民全体で健全な議論を進めていくには、正しい報道のあり方を検討する必要がある
- HTAは医療費削減のツールではなく、HTAによって医療資源の適切な配分を可能にすることが期待されている。HTAについての根本的かつ正しい国民の理解が求められる
- 諸外国では、費用対効果評価の導入により、医薬品へのアクセス制限が生じた例もある。費用対効果評価は患者の医薬品へのアクセスに影響を与える可能性があるため、患者を含めたマルチステークホルダーで議論を進めていく必要がある

## 今後検討すべき論点

- ▶ 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

# Issues Identified from the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment -Preparatory Meeting Report: Summary of Discussion and the Way Forward

Rebalancing Healthcare Systems: Innovation and Sustainability Series

## Background

The creation of efficient and effective healthcare systems to ensure innovation and sustainability is a common issue for every country across the world, including Japan. Efforts are being made country by country to appropriately assess medical treatments. Health Technology Assessment (HTA) is one way to gauge the cost-effectiveness of healthcare systems and ensure the optimal allocation of resources. In Japan, since 2012 there have been many discussions held on the introduction of HTA, particularly at the Committee for Cost-Effectiveness Assessment within the Central Social Insurance Medical Council (Chuikyo). A trial introduction of Cost-Effectiveness Assessment started in FY2016. Dialogue on these assessments continues in FY2018 towards their full-scale introduction.

The Health and Global Policy Institute (HGPI) has worked to facilitate open discussions on HTA since FY2016. In 2017, HGPI conducted several global expert meetings with the aim of developing policy recommendations. Although the participants of these meetings recognized the efforts that have been made to introduce HTA up to this point, they also pointed out many remaining issues, including the need for better communication when re-analyzing technology, issues with calculation methods and other technical matters, and the need for transparency and public accountability.

In light of these comments, HGPI plans to conduct a series of forums with the goal of deepening discussions and compiling perspectives on the future. These forums will reviewing the issues that have come up in Cost-Effectiveness Assessment trials so far, as well as lessons learnt and best practices. To kick-off the FY2018 forums, we have convened this Preparatory Meeting, with the aims of identifying priority issues to be addressed during subsequent forums, and reaching agreements among stakeholders, including those from industry, the government, academia, and civil society.

At the Preparatory Meeting, key issues for further discussion were identified through a roundtable conference with diverse experts. The meeting was held in accordance with the Chatham House Rule.\* After considering the main issues and ideas raised from those experts, HGPI has summarized the discussion into the following key issues, which will be further elaborated on in subsequent forums.

\*The Chatham House Rule refers to a meeting format in which discussions are held off-the-record and speakers remain unidentified. This rule aims to facilitate an honest and vigorous debate by ensuring anonymity.

## Summary

**Date:** Thursday, May 31, 2018 (18:30-20:30)

**Venue:** Otemachi Financial City Grand Cube 3F (Global Business Hub Tokyo)

**Organizer:** Health and Global Policy Institute (HGPI)

**Style:** A roundtable session with around 20 experts from Japan and abroad

### Program:

- 18:30 Opening (Explanatory introduction): **Joji Sugawara** (Associate, HGPI)
- 18:40 Opening speeches by roundtable speakers
- 19:30 Discussions on topics/agenda to be covered in the FY2018 Forum Series



## Roundtable Speakers (Titles omitted; in Japanese syllabary order):

|                          |  |
|--------------------------|--|
| <b>Manabu Akazawa</b>    | (Professor, Department of Public Health and Epidemiology, Meiji Pharmaceutical University)   |
| <b>Shinsuke Amano</b>    | (Executive Director, Japan Federation of Cancer Patient Groups)  |
| <b>Ataru Igarashi</b>    | (Associate Professor, Graduate School of Pharmaceutical Sciences, University of Tokyo)   |
| <b>Mamoru Ichikawa</b>   | (Principal Program Director,<br>Production Center I Science Programs Division, Program Production Department, Japan Broadcasting Corporation (NHK))    |
| <b>Satoshi Imamura</b>   | (Vice-President, Japan Medical Association)  |
| <b>Ichiro Innami</b>     | (Professor, Faculty of Policy Management, Graduate School of Media and Governance, Keio University)  |
| <b>Yoshie Onishi</b>     | (Director, Japan Operations, Creativ-Ceutical K.K.)  |
| <b>Kosuke Kato</b>       | (Managing Director, Edwards Lifesciences Limited)  |
| <b>Keiji Kono</b>        | (Senior Vice President, External Affairs and Global Health Policy, Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.)  |
| <b>Hidehito Kotani</b>   | (President, CEO & CTO, PHC Holdings Corporation)   |
| <b>Yasushi Goto</b>      | (Department of Respiratory Medicine, National Cancer Center Hospital)  |
| <b>Shigekazu Komoto</b>  | (Planning Officer, Medical Economics Division, Health Insurance Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW))                                 |
| <b>Shinya Saito</b>      | (Professor, Graduate School of Health Sciences, Okayama University)  |
| <b>Naokazu Saito</b>     | (Chief, Policy Intelligence Division, Integrated Market Access Department, Janssen Pharmaceutical K.K.)  |
| <b>Hiroyuki Sakamaki</b> | (Professor, School of Management, Tokyo University of Science)   |
| <b>Tomoyuki Takura</b>   | (Project Professor, Department of Healthcare Economics and Health Policy,<br>Graduate School of Medicine and Faculty of Medicine, University of Tokyo) |
| <b>Makoto Tamura</b>     | (Founder and CEO, Healthcare System Planning Institute)  |
| <b>Toshio Nagase</b>     | (Director, Government Affairs, Gilead Science K.K.)  |
| <b>Ryu Niki</b>          | (Adviser and Professor Emeritus, Nihon Fukushi University)   |
| <b>Yoshiyuki Majima</b>  | (President, Pancreatic Cancer Action Network Japan)  |

## Moderators:

|                       |                          |
|-----------------------|--------------------------|
| <b>Ryoji Noritake</b> | (President, HGPI)        |
| <b>Yuiko Kondo</b>    | (Senior Associate, HGPI) |



## Summary

### ► There is a need to redefine HTA and explore its potential use for balancing sustainable healthcare systems and innovation

- HTA is a methodology for the evaluation of medicines, medical devices, and the services provided by healthcare professionals. Cost-Effectiveness Assessment is one part of HTA focusing on economic issues.
- Substantial analyses should be undertaken on the potential use of Cost-Effectiveness Assessment to help assign appropriate value to innovation while also controlling drug prices.
- Some argue that Cost-Effectiveness Assessment has had a limited impact on drug cost reduction. Careful consideration is thus needed for current proposal that call for Cost-Effectiveness Assessment to be used as a means of adjusting drug prices.
- Innovative drugs and medical devices enable early diagnoses, curative treatment and rehabilitation. They also have the potential to reduce medical expenses and create new financial resources by raising labor productivity. Therefore, appropriate evaluations should be made through HTA.
- The results obtained from Cost-Effectiveness Assessment are expected to facilitate decision-making by patients and healthcare professionals in clinical settings. Therefore, discussions on HTA should feature the participation of physicians and other healthcare workers. This is expected to improve the quality of analyses and the evidence they produce.
- The use of HTA for new medicines and medical devices can not only help to establish the safety and effectiveness of those medicines and devices, but also demonstrate their superiority to existing medicines and devices. Regardless of research and development costs, prices should be set to be sustainable and affordable for the national health insurance.

### ► 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 Assessment, including re-analyses and comprehensive evaluations (appraisals)

- Considering the impact of co-morbidity, severity, concomitant drugs, etc., on Cost-Effectiveness Assessment, it is impossible to calculate a single Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER) for a medicine or medical device under every circumstance. These aspects should be considered when conducting assessments.
- Given the diversity in the way that diseases present themselves in patients, and diversity in the severity of diseases across different situations, great care should be given to using a single ICER value for any one treatment. Furthermore, for extremely severe diseases, it is important to consider ethical and social matters in addition to an intervention's ICER when assessing treatments.
- Analytical methods need to be developed that are specific to medical devices given the unique nature of such technology, including the fast cycle of redevelopment and the fact that outcomes can be influenced by the proficiency levels of healthcare staff.
- Technical and institutional issues identified through trials should be shared with multiple stakeholders in order to discuss the next steps on this issue.
- In order to improve the quality of the evidence produced by Cost-Effectiveness Assessment, it may be useful to incorporate economic evaluation plans into phase III trials, which already require strict evaluation, in addition to validity and safety analyses.
- Some have argued that when the results of Cost-Effectiveness Assessment are used solely for the purpose of adjusting the pricing of medicines, there is no need for a comprehensive assessment that considers ethical and social issues. However, others feel that a comprehensive evaluation framework should be established that does incorporate ethical and social elements, to ensure the appropriate allocation of healthcare resources. Further debate is needed to clarify the role of Cost-Effectiveness Assessment and how to appraise their results.
- There is a certain level of uncertainty in the processes used for Cost-Effectiveness Assessment, with different analysts having different perceptions and opinions on how they should be done. It is vital to review approach and frameworks for these analyses and to create opportunities for dialogue between reanalysis groups and companies.
- In other countries, excluding the United Kingdom, experts normally review the data submitted by companies (without conducting re-analyses). For the trial introduction in Japan, however, experts reanalyzed all of the data submitted by companies, creating a heavy additional workload. Efficient ways for the conducting of re-analyses should be explored as well.
- For the trial, there was a significant disparity observed in the analysis results between companies and the re-analysis team. There needs to be a highly transparent discussion with experts to identify the reasons for such differences.



► **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**

- Substantial analyses should be undertaken on the potential use of Cost-Effectiveness Assessment to help assign appropriate value to innovation while also controlling drug prices.
- Some argue that Cost-Effectiveness Assessment has had a limited impact on drug cost reduction. Careful consideration is thus needed for current proposal that call for Cost-Effectiveness Assessment to be used as a means of adjusting drug prices.
- Innovative drugs and medical devices enable early diagnoses, curative treatment and rehabilitation. They also have the potential to reduce medical expenses and create new financial resources by raising labor productivity. Therefore, appropriate evaluations should be made through HTA.
- The results obtained from Cost-Effectiveness Assessment are expected to facilitate decision-making by patients and healthcare professionals in clinical settings. Therefore, discussions on HTA should feature the participation of physicians and other healthcare workers. This is expected to improve the quality of analyses and the evidence they produce.
- The use of HTA for new medicines and medical devices can not only help to establish the safety and effectiveness of those medicines and devices, but also demonstrate their superiority to existing medicines and devices. Regardless of research and development costs, prices should be set to be sustainable and affordable for the national health insurance.

► **There is a need to create a system that could enable companies to actively undertake Cost-Effectiveness Assessment**

- In order to promote use of Cost-Effectiveness Assessment among private companies, it is important to clarify its benefits and create a mechanism to provide incentives for active engagement with this issue.
- For companies, data submissions for Cost-Effectiveness Assessment may be helpful to fulfill external accountability requirements, and this can help management hedge risks. Further discussions should be held with companies on how to build systems to encourage data submissions.
- The results of data collection and Cost-Effectiveness Assessment sometimes vary according to company size and experience. There may be the need to consider the creation of support systems for the medical devices industry, which is smaller in scale compared to the pharmaceutical industry.
- It may be helpful to discuss the possibility of setting up a system that would tentatively set prices low when initially calculating medicine/medical device prices and thereafter raise prices based on the results of Cost-Effectiveness Assessment. This may provide an incentive for companies to become involved with 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**

- It is essential that accurate and easy-to-understand information be disseminated in order to raise public awareness and understanding of the benefits and impacts of introducing Cost-Effectiveness Assessment.
- Views on Cost-Effectiveness Assessment vary among citizens, and this may cause conflict between different groups of people. As the media has a great impact in shaping public opinion, the information available in the media on this issue should be closely examined to facilitate healthy debate among the public.
- HTA is not a tool to reduce medical expenditures, but to enable the appropriate allocation of healthcare resources. It is important to ensure that there is a fundamental and correct understanding of HTA among the public.
- It has been reported in other countries that in some cases, the introduction of Cost-Effectiveness Assessment caused restricted access to medicine. As Cost-Effectiveness Assessment may affect patient's access to certain medicines, it is critical to hold discussions among multiple stakeholders, including patients.

**Issues to be discussed in the Forum Series**

- **Technical and Appraisal-related Issues Identified through the Trial Introduction of Cost-Effectiveness Assessment**
- **The Introduction of Cost-Effectiveness Assessment, Its Impact, and Compatibility with Other Systems**
- **Increasing Public Awareness and Understanding on the Impacts and Benefits of Cost-Effectiveness Assessment**