



第2回グローバル専門家会合
「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～日本における
医療技術評価（HTA）のあり方、課題、そして今後の期待：徹底討論～」
日本医療政策機構（HGPI）主催

The 2nd Global Expert Meeting
“Rebalancing National Health Systems: Innovation and Sustainability” Series
– The Current Status, Challenges, and Opportunities of Health Technology Assessment (HTA) in Japan
Convened by HGPI

2017年10月5日（木）
Thursday, 5 October 2017

今後検討すべき総合的な論点

総合的な視点 1：

医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）は医療費抑制のツールではなく、国民や患者のために医療技術を正当に評価する手法であることを、ステークホルダーが再認識する必要性

- 中央社会保険医療協議会（中医協）の議論をはじめ、医療費抑制のための費用対効果という議論になってしまう場合があるが、HTAは本質的に国民や患者の利益に寄与することができるという視点を再認識すべきである。

総合的な視点 2：

導入段階として、医療機器と医薬品についてのHTA議論が本格化しているが、医療技術全般についてのHTA導入についても検討する必要性

- 患者にとっての価値に基づく医療（value-based healthcare）を実現するためには、医療技術や医療サービス全般の質の向上についても議論を重ねていくべきである。
- HTAの結果が、最終的に患者利益につながっていない場合もあり、総合的で臨床現場の視点を含めた評価も検討されるべきである。（例：注射薬が経口薬に代わるなどのイノベーションがある一方で、その経口薬の処方を受けるために、病院内の別の診療科で受診する必要があるなど）

総合的な視点 3：

HTA導入によりイノベーションを正当に評価するためには、保健医療システム全体を見据えて、効率性や生産性を向上させることも同時に検討する必要性

- HTAによって優れていると評価され得る医薬品や医療機器を研究開発する環境を維持向上すべく、残薬問題の解消、多剤併用の解消、ジェネリックやバイオ後続品の普及推進などによる保健医療システム全体の効果的で効率的な運用も検討されるべきである。



Comprehensive Viewpoints to Consider in the Future

Comprehensive Viewpoint 1:

There is a need for stakeholders to acknowledge that HTA is not a tool to contain medical expenses but a tool to evaluate medical technology fairly for both the public and patients.

- HTA discussions tend to revolve around cost containment, including cost-benefit analyses. Stakeholders need to re-acknowledge the viewpoint that HTA is meant to contribute fundamentally to the interests of the public and patients.

Comprehensive Viewpoint 2:

There is a need to consider the introduction of HTA for all medical technology, not just for medical devices and pharmaceuticals.

- In order to realize value-based healthcare for patients, stakeholders should discuss more about how to improve the quality of medical technology and medical services as a whole.
- There are cases where HTA results do not lead to results that are in the best interest of patients. Stakeholders should consider evaluation methods that are comprehensive and include clinical practice viewpoints (for example, although on the one hand such innovations as the replacement of injectable drugs with oral drugs are now taking place, this innovation has also created new problems, such as the requirement that patients see multiple doctors in different departments before they can receive a prescription for oral drugs).

Comprehensive Viewpoint 3:

In order to evaluate innovation fairly through the introduction of HTA, it is important that efficiency and productivity within the entire healthcare system be considered alongside the results from HTA.

- While maintaining and enhancing the R&D environment for medical devices and pharmaceuticals with excellent HTA results, stakeholders should also consider effectiveness and efficiency in the entire healthcare system and work to solve problems related to unused drugs and polypharmacy issues by promoting generics, biosimilars, and so on.



第2回 グローバル専門家会合

「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

～日本における医療技術評価（HTA）のあり方、課題、そして今後の期待：徹底討論～

2017年10月5日（木）

概要

当機構は、2017年4月、米国 戦略国際問題研究所（CSIS: Center for Strategic and International Studies）と共催で、グローバル専門家会合「医療システムにおけるイノベーションと持続可能性の両立に向けて」を開催しました。4月に開催した会合では、イノベーションを推進しながら、公平なアクセスを確保し、質の高い医療の提供を担保する一方で、コストを抑えるという難題は、日本独自の課題ではなく、世界共通の課題であることが確認されました。また、医療技術や機器・薬剤の価値を適切に評価するために、財政的な負担と公衆衛生上の利点の双方を指標とし、マルチステークホルダーによる意思決定プロセスにおける国民の参画の重要性が指摘されました。

高齢化や慢性疾患の増加による疾病構造の変化や、医療技術や機器・薬剤の発展による医療費の高額化も急速に進んでおり、それに伴う保健医療システムの持続可能性も世界各国の喫緊の課題となっています。ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC: Universal Health Coverage）という概念についても、負担と給付の範囲や是非に関する議論が世界各国で活発化しています。我が国でも、HTAや保険者機能の強化といった方法による対応策が模索される中、医療サービスの受益者である社会全体、個々人の価値観を、如何に医療技術や機器・薬剤の評価に反映していけるのか、検討を重ねている段階です。

本グローバル専門家会合では、持続可能な医療システムのあるべき姿に関して、国内外における医療従事者、企業関係者、学識関係者、関連省庁や市民社会等を代表する専門家が一堂に会し、フラットかつマルチステークホルダーによる議論が行われました。

詳細

日時：2017年10月5日（木） 14時00分～17時15分

会場：国際文化会館 岩崎小彌太記念ホール

主催：特定非営利活動法人 日本医療政策機構（HGPI: Health and Global Policy Institute）

参加者：政策立案者、有識者、海外有識者、関連省庁関係者、企業関係者など

プログラム：（敬称略・順不同）

14:00-14:05 趣旨説明

14:05-14:25 基調講演1 鈴木 康裕（厚生労働省 医務技監）

14:25-14:45 基調講演2 齋藤 信也（岡山大学大学院 保健学研究科 教授

国際医薬経済・アウトカム研究学会（ISPOR）日本部会 会長）

15:00-17:10 ラウンドテーブル 「日本における医療技術評価（HTA）のあり方、課題、そして今後の期待」

17:10-17:15 閉会



“Rebalancing National Health Systems: Innovation and Sustainability” Series

– The Current Status, Challenges, and Opportunities of Health Technology Assessment (HTA) in Japan

Thursday, 5 October 2017

Summary

In April 2017, the Center for Strategic and International Studies (CSIS) and HGPI jointly convened the very first global expert meeting on “Rebalancing National Health Systems: Innovation and Sustainability.” At this meeting, experts agreed that issues such as those related to containing costs while promoting innovation and ensuring equitable access to quality health care were not unique to Japan, but were wide-ranging challenges being faced around the globe. The meeting’s experts also emphasized the importance of involving the public (patients) in the decision-making process, especially when evaluating the costs and public health benefits of health technology.

In recent years, the sustainability of health systems has become a pressing threat worldwide due to rapid demographic and epidemiological transitions, ever-growing health expenditures, and new innovations in health care. At the same time, discussion is intensifying around the world questioning the concept of Universal Health Coverage (UHC), as well as the potential size of costs and benefits in health care systems with UHC. Japan has been exploring solutions to issues related to health care costs, such as the introduction of HTA and reinforcement of insurer functionality. However, Japan, just like many other countries around the globe, is faced at the challenge of how to accurately assess and reflect the values of everyone who receives medical services (including both society as a whole and individual people) into evaluations of medical technology, devices, and medications.

In this 2nd global expert meeting, a variety of domestic and foreign experts and stakeholders discussed on the current status of HTA implementation in Japan, as well as future challenges for HTA and its potential advantages.

Details

Date & Time:	14:00-17:15, Thursday, 5 October 2017		
Venue:	Iwasaki Koyata Memorial Hall, International House of Japan, Tokyo		
Organizer:	Health and Global Policy Institute (HGPI)		
Participants:	Health policy makers, healthcare experts, legislators, ministry officials, healthcare executives		
Program:			
14:00-14:05	Welcoming Remarks		
14:05-14:25	Keynote Speech I	Yasuhiro Suzuki (Chief Medical & Global Health Officer, Vice-Minister for Health, Ministry of Health, Labour and Welfare)	
14:25-14:45	Keynote Speech II	Shinya Saito (Professor, Graduate School of Health Sciences, Okayama University/ President, International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research(ISPOR) JAPAN)	
15:00-17:10	Roundtable	“The Current Status, Challenges, and Opportunities of HTA in Japan”	
17:10-17:15	Closing		



▶ 鈴木康裕（厚生労働省 医務技監）

医薬品業界を取り巻く環境の変化

- 近年の医薬産業界を取り巻く環境は大きく変化している。特に医薬品の高額化は各国の課題となっている。国際的な医薬品の売り上げ上位15品目を見ると、2001年には2品目であったバイオ医薬品は2015年には9品目に増加している。
- バイオ医薬品は従来の医薬品と異なり、研究開発（R&D: Research & Development）だけではなく、製造過程でもコストが掛かるため、医薬品の高額化の原因の一つとして考えられている。また、この分野における日本資本の製薬企業の活躍は限定的で、海外資本の製薬企業が優勢である。
- グローバル製薬企業が新薬を開発する際、ベンチャー企業やアカデミアにおける発見やイノベーションを買い上げる形式へ変化してきており、内製的な研究開発の割合が大きい国内資本の製薬企業は欧米に比べて後塵を拝している。このことが、バイオ医薬品の市場における日本のR&Dが遅れている原因としても考えられる。
- 国別の主要な医学研究の学術誌へ投稿の傾向を見た際に、我が国の基礎研究の論文数は比較的上位ではあるが、臨床研究に関する分野においては論文の数が減少傾向を示しており、基礎研究と臨床研究の間に隔絶が存在している。

近年の製薬業界の姿

- 国内の医薬品はその種類ごとに（1）「特許期間中の先発品（新薬創出加算対象）」、（2）「後発品のない先発品（新薬創出加算対象外）」、（3）「後発品の有る先発品」、（4）「後発品」、そして（5）「S42以前の収載品」の5品目で考えることができる。
- 年間の全19,876品目数のうち、後発医薬品（ジェネリック）は9,901品目（約50%）、昭和42年以前の収載品（漢方などを含む）は6,200品目（約31%）、後発品の有る先発品は1,612品目（約8.1%）、後発品のない先発品（新薬創出加算対象外）は1,327品目（約6.7%）、そして非常に新しくイノベティブな特許期間中の先発品（新薬創出加算対象）が799品目（約4.0%）となっており、後者3品目の占める割合は品目で見ると全体の約20%以下となっている。
- また、医薬品の売り上げである薬剤費（合計9.2兆円）を見ると、ジェネリックと昭和42年以前の収載品などの売り上げは全体の約21.6%となり、品目全体で占める割合が小さかった新薬創出加算対象の先発品などの薬剤費が全体の75%を占める状態となっている。
- 特許（パテント）切れ市場における長期収載品の売り上げにおいては、米国では約90%、欧州では約70%がジェネリックに置き換わっているが、日本では約40%と低く、将来的には80%近くまで拡大させていくことが想定される。
- 国内資本の医薬品や医療機器の企業規模は諸外国に比べ小さく、高額な投資が必要となるバイオ医薬品が主流になっていく中、日本の医療産業界は変革が求められている。





国内の医薬品・医療機器企業の振興のために

- 厚生労働省は、再生医療などの製品については、有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別に早期に承認できる新たなスキームを作った（「薬事法等の一部を改正する法律」および関連諸制度）。そのため、現在の日本は世界的に見ても大幅に承認が早まっており、世界的な注目が集まっている。
- 「新薬創出等加算制度をゼロベースでの見直し」など、薬価制度の抜本的改革を求める声もあり、引き続きマルチステークホルダーによる議論の深化に期待したい。

医療費増加と日本の医療政策の行方

- 2015年度の医療費の伸びは3.8%であった。その内、高齢化による影響は1.2%である一方、調剤と外来はそれぞれ1.5%、0.9%の増加を示している。調剤の伸びは、技術料ではなく薬材料に起因しており、化学療法剤が0.77%を占めている。また、「高額療養費制度」の対象が増加しており、これも医療財政へ影響を与えている。
- 薬剤費増加の議論をする際に重要な視点は、化学療法剤の増加を抑制すれば問題が解決するという短期的な視点ではなく、革新的な薬は、根治をはじめとした劇的なインパクトを有しているものについて、長期的に見た際に費用対効果がよい場合もあるという、中長期的な視点である。
- 単年度の影響や医療のコストだけの視点から医療費を検討するのではなく、社会で健康に働くことによる経済的メリットなど、多面的な評価が期待される。
- 21世紀中盤以降の医療制度を持続可能なものにしていくためには、以下の4点が重要と考える；
 - （１）研究開発の環境整備
人工知能（AI: Artificial Intelligence）やがんゲノム研究が好事例と考えられるが、研究開発のしやすい環境を官民一体で造りだすこと
 - （２）条件付きの早期承認制度の活用
いままでは再生医療だけだった条件付き早期承認制度を、再生医療以外の分野にも広げることによる、研究開発の促進と無駄なコストの削減
 - （３）市販後調査（PMS: Post Marketing Surveillance）の改善
高額になりがちなPMSを、医療情報（電子カルテ、検査値データ、レセプトなど）を解析するデータベースシステム（MID-NET: Medical Information Database Network）など、リアル・ワールド・データ（RWD: Real World Data）を構築することによって、安くかつ迅速にデータ集め、一定の安全性と有効性を担保したうえで、科学的な根拠（エビデンス）を構築し応用していくこと
 - （４）医療技術評価（HTA）
上記方法で、迅速に承認された医薬品について、医療技術評価によって得られた科学的な根拠（エビデンス）をもとに、その医薬品の価値を定義していくこと

▶ 齋藤信也（岡山大学大学院 保健学研究科 教授/国際医薬経済・アウトカム研究学会（ISPOR）日本部会 会長）

医療技術評価（HTA）の学問的な変遷

HTAの定義

- 医療技術評価について議論をする際には、EBM（Evidence-based Medicine）、VBM（Value-based Medicine）、CER（Comparative Effectiveness Research）、そしてHTA（Health Technology Assessment）という言葉の定義がなにを指しているのか留意することが重要である。
- 国際医薬経済・アウトカム研究学会（ISPOR: International Society For Pharmacoeconomics and Outcomes Research）では医療技術評価（HTA: Health Technology Assessment）を「医療技術の短期的および長期的な適用の結果を調べる政策研究の一形態である」と定義している。
- また、医療技術評価機関国際ネットワーク（INAHTA: International Network of Agencies for Health Technology Assessment）では「学際的な政策研究分野であり、医療技術の開発や普及、および実際の使用によって生じる医学的、経済的、社会的、且つ倫理的な意義を研究するもの」と定義しており、ISPORに比べより広義の解釈がなされている。
- EBMはエビデンスの生成、合成そして意思決定の効能（Efficiency）を対象としている一方、VBMでは効果（Effectiveness）およびValue（価値）に重きが置かれており、HTAはリアル・ワールド・データ（RWD）といった言葉に代表されるように、実社会における意思決定に重きが置かれた概念であるとも言える。

HTAの変遷

- 諸外国において：1960年代の米国において、環境分野に対して技術評価（TA: Technology Assessment）が導入された。その後、1972年に米国議会技術評価局（OTA: Office of Technology Assessment）が設置され、連邦政府が関わるメディケア、メディケイドの評価へ応用され、医療技術評価という分野が生まれた。しかし、OTAは予算削減の対象となり、1995年に廃止される。一方、1980年代に欧州において現在の原型となる医療技術評価が広がり、1990年代に世界的に医療経済評価の研究を目的とした組織が作られ始める。
- 日本において：1974年に文部省科学技術白書において医療分野の科学技術評価がなされる。その後、1990年に厚生科学研究として医療技術評価が取り上げられ、1996年には「医療技術評価の在り方に関する検討委員会」が設置された。根拠に基づく医療（EBM: Evidence-based Medicine）に置き換わる形で議論がされ「政策決定支援から、診療ガイドラインの策定」への応用が期待されたが、それを担う専門的な組織設立の提言は採用されなかった。その後、2012年に中医協費用対効果評価専門部会が設置され、HTAの議論が再開された。

HTAの活用方法

HTAの活用方法は大きく分けて（１）評価基準の公表、（２）償還可否の判断材料、（３）償還価格への反映

- 「償還価格への反映」は多くの国々でなされているが、制度ごとの特徴や差異が見られるのは「HTAを償還の可否の判断材料」にするか否かである。
- HTAの結果を償還の可否で用いない場合には、価格交渉のツールになる可能性があり、その価格交渉結果を反映した値付けとなる可能性がある。
- また、手法の是非について諸説あるが、処方される方によっては同一の薬に対して複数の価格が付く可能性があり、分析結果で得られた複数の増分費用効果比（ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio）を使用患者割合などで加重平均し総合的評価に用いるといった対策が一つの案として議論されている。



HTAを国内で導入する際の留意点

以下の議論を踏まえた検討が求められる。

対象となる医薬品・医療機器の選定基準

- 医薬品分析のガイドラインを医療機器へ応用することは性質が大きく異なるため、医療機器については独自のガイドラインが求められる。
- 対象品目を選定する際に、革新性が高い項目に対してはその価値に見合った加算が可能か、また市場規模の大きな品目に関しては、医療財政への影響を考慮した薬価算定のルールとどのように調整していくか、さらなる議論が必要である。
- 治療法が十分に存在しない希少な疾患や小児疾患の治療薬は、HTAの対象からあらかじめ外しておく必要がある。

倫理的、社会的影響などに関する観点から実施される総合的評価（アプレイザル）

- HTAを活用する際に、薬価算定の段階で既に考慮済みのイノベーションを再評価する場合には、二重で評価しないような工夫が求められる。また、選定基準において小児疾患を対象とする治療に関しては除外しているものの、成人にも使用されるものは慎重な評価が求められる。
- 長期にわたり重症の状態が続く疾患での延命治療に関しては文化的、社会的な価値観を考慮したうえで、英国のEOL（End of Life Scheme）のような評価方法をはじめとした諸外国で事例をもとに慎重かつ柔軟な議論が必要である。
- 代替治療が十分に存在しない疾患の治療では費用対効果評価を行う第三者機関と企業側と患者の治療機会、代替治療の可能性に関して意見が食い違う可能性があり、何らかの対応策を検討するべきである。

本格的導入に向けて

- 費用対効果評価は、高額な医療技術の増加による医療保険財政への影響の対応策のひとつとして費用対効果評価の導入に向けた議論が中医協で開始された。
 - 経済財政運営と改革の基本方針2017（骨太の方針）においても、「費用対効果評価の本格導入などの薬価制度の抜本改革等に取り組み、『国民皆保険の持続性』と『イノベーションの推進』を両立し、国民が恩恵を受ける『国民負担の軽減』と『医療の質の向上』を実現する」旨が記載された。
- 大前提として、費用対効果評価は薬価を下げることを目的とした分析ではない点に留意が必要である。
- また、英国国立医療技術評価機構（NICE: National Institute for Health and Care Excellence）においては、費用対効果に優れるとして推奨した医薬品に対して、国民は、使用する法的権利があり、国には、国民に提供する義務があると謳われていたが、財政インパクト閾値（Budget Impact Threshold）があまりに大きく、英国国民保健サービス（NHS: National Health Service）によって“Cost Effective”だが“Not Affordable”という判断が当初下され、大きな議論を呼んだ。
- 費用対効果評価を行う機関の独立性が担保され、国民に質の高い医療、そして費用対効果に優れた医薬品を提供していくとともに、医療保険財政の持続可能性を考慮したうえで、一貫性、透明性の担保された制度の構築が求められる。



ラウンドテーブル「日本における医療技術評価（HTA）のあり方、課題、そして今後の期待」

❖ 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）
- 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（医療ジャーナリスト / 日本放送協会（NHK） 科学・環境番組部 第1制作センター 制作局 ディレクター）
- Eun-Young Bae（慶尚大学校 薬学部 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）
- Chris Hourigan（ヤンセンファーマ株式会社 代表取締役社長）
- Kevin Haninger（米国研究製薬工業協会（PhRMA） インターナショナル・アドボカシー デピュティ・バイス・プレジデント）
- Koen Torfs（Janssen Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson グローバル・リエンバースメント&リアル・ワールド・エビデンス バイスプレジデント）
- 後藤 悌（国立がん研究センター中央病院 呼吸器内科）
- 小谷 秀仁（パナソニック ヘルスケアホールディングス株式会社 代表取締役社長 / パナソニック ヘルスケア株式会社 代表取締役社長 最高経営責任者 最高技術責任者）
- 齋藤 信也（岡山大学大学院 保健学研究科 教授 / 国際医薬経済・アウトカム研究学会（ISPOR） 日本部会 会長）
- 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/がん対策推進協議会 患者委員）
- 白岩 健（国立保健医療科学院 医療・福祉サービス研究部 主任研究官）
- 田村 誠（米国医療機器・IVD工業会（AMDD） 医療技術政策研究所 所長 / 一般社団法人 医療システムプランニング 代表理事）
- 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・大学院 特任教授）
- Philippe Fauchet（欧州製薬団体連合会（EFPIA Japan） 副会長 / グラクソ・スミスクライン株式会社 代表取締役会長）
- 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）
- 松本 純一（公益社団法人 日本医師会 常任理事）
- 眞鍋 馨（文部科学省 高等教育局 医学教育課 企画官）

❖ モデレーター：

- 乗竹 亮治（日本医療政策機構 事務局長）
- 菅原 丈二（日本医療政策機構 アソシエイト）



概要

2012年の第1回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から本会合が開催された2017年10月5日までに延べ48回の専門部会が開催された。

日本の医薬品/医療機器の保険償還におけるHTAの在り方は、2015年6月30日に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針2015」、2016年12月20日に示された「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」、そして2017年6月9日に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針2017」と大きな注目を集める中、2016年度より医薬品7品目・医療機器5品目に対し費用対効果評価の試行的導入がなされた。

費用対効果評価の本格導入に向けた様々な議論が進められる中、実施方法や評価結果の価格への反映方法などに関して、引き続き議論の深化が求められている。

以下、2017年10月5日（木）までにおける、中医協での議論をもとに**費用対効果評価を行っていく工程毎の課題、そして本格導入に向けて更に議論が必要である課題**を論点1～10としてまとめた。尚、グローバル専門家会合で議論された内容について、主催者側が論点を抽出し、と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なく、本報告書発行時における最新の議論が反映されていない場合がある。



企業によるデータの提出および分析方法について：

現行の導入案：

対象品目の製造販売業者は、分析ガイドライン（医療経済評価の政策応用に向けた評価手法およびデータの標準化と評価のしくみの構築に関する研究）に基づき分析を実施し、分析結果及び使用された分析方法・条件を提出することが求められる。また、ガイドラインに基づく標準的な分析方法以外の分析方法を取る場合などにおいては、必要に応じて、費用対効果評価専門組織において分析方法などの妥当性などについて予め確認するために事前相談を実施する。

論点1：質の高いデータを収集するシステムの必要性

- 分析を行う際に使用するデータには、一定の信用性・納得感が必要である。しかし、現在の日本では分析に必要な情報を収集するためのデータベース構築が遅れている。従って、産業界と独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）といった組織の間で事前協議を行い、費用対効果評価分析使用のため、臨床試験時から質の高いデータを収集できるシステム構築や医療分野における情報通信技術（ICT）の整備が必要である。
- そのためにも、対象品目を持つ企業が常に質の高いデータを収集するようインセンティブシステムの構築が必要である。（例：上市后、実臨床でのリアル・ワールド・データ（RWD）によるエビデンスにより効果を示したり、効果が認められた品目に対し、価格を担保したり、価格を上げたりする仕組み）

論点2：支払い意思額（WTP）を定めずに分析・評価する方法の可能性

- 増分費用効果比（ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio）は、比較対照薬と対象品目の費用対効果の優劣を判断する基準であり、そのICERの評価にあたって支払い意思額（WTP: Willingness to Pay）によって設定される閾値を使用すべきかどうかといった議論もされている。ICERがWTPによって設定される閾値より高いと、費用対効果は劣り、その閾値より低いと費用対効果が優れていると判断される。
- ICERの値には常に不確実性が伴っている為、近年では分析結果の信頼性に異論を唱える者もいる。例えば、分析に必要なデータ収集のシステムが構築されていない場合では、正確にWTPを計算することは難しい。
- 従って、我が国で現在実施されている「国内の支払い意思額に関する調査」のそもそもの必要性や科学的な妥当性についての議論も必要である。米国のWTPの閾値についても明確な研究結果から導き出されたものではない。また英国のWTPも財政への影響に対応するため、閾値を引き上げる議論が現在行われている。
- 正確な閾値は時と共に変化するものであり、疾患により大きく異なる。特に、国民皆保険制度により医療サービス・医薬品などが国の定める診療報酬の3割もしくは1割などの自己負担でアクセスできる環境にある日本国民には、価値を価格に反映するという感覚が備わっていない可能性が高いと考えられる。
- WTPを定めずに評価をしている国（オーストラリアなど）や既存の他の治療に係る費用などを参考にしてみるべきとの意見も見られた。

再分析の実施方法について：

現行の導入案：

企業が再分析に必要なデータを提出し、このデータを基に学術機関などの専門体制の整った、外部の公的で中立的な立場の専門家らによって再分析を実施する。また、再分析を行う際には、利益相反に関する厳格な規定のもと、人選が行われる。

論点3：企業と再分析班の間で科学的でフェアなコミュニケーションの必要性

- 試行的導入の際には、企業と再分析班のコミュニケーションが不足したことについて、双方から教訓として提起された。再分析には、対象品目をよく知る企業からの情報提供が必要であり再分析班と企業の結果を比較できるシステムも求められる。利益相反にも留意しつつも、科学的でフェアな情報・意見交換の場が、再分析の過程で必要である。

論点4：再分析班でアナリストとして活躍できる人材のさらなる育成の必要性

- 再分析班でアナリストとして活躍できる人材は大幅に不足している。加えて、再分析班に臨床医などの、医療現場を知る人材が参画できる素地も検討されてよい。現状では、人材不足などにより外部専門家の負担が増加し、分析のレベルも低下している状況にある。本格導入を検討するにあたっては、HTAを専門とするアカデミア、アナリストの育成を早急に取り組み、限られたリソースや機関のみからではなく、多様な人材プールから国内外の知見を注入すべきである。

論点5：再分析結果の国民への公表の必要性和その方法

- 試行的導入の再分析結果がどのように国民へと公表されるのかは未だ明らかではない。国民の理解を得るためにも、試行的導入の段階で得られた結果の公開が求められる。

総合的評価（アプレイザル）の実施方法について：

現行の導入案：

中医協費用対効果評価専門組織において、企業と再分析グループから提出された分析結果をもとに専門的見地から議論を行い、評価結果案を策定する。これは非公開で行われる。また、製造販売業者は、費用対効果評価専門組織に出席し、意見表明を行うことが担保されており、アプレイザルの結果として追加の分析が必要と判断される事がある。

論点 6：アプレイザル方法の公平性・透明性を確保する必要性

- アセスメントの分析結果は不確実性を含んでいるため、幾つかあるうちの価値を表すひとつの指標として受け入れられるべきである。従って、どれだけアプレイザルの判断基準に柔軟性を持たすか（倫理社会的要素の考慮）に十分な考慮が必要であり、アセスメントとアプレイザルのバランスと区分けが重要になってくる。
- その為、アプレイザルでは極めて高い公平性が求められ、疾患や医薬品別で不確実性が異なることを考慮したうえで、意思決定を行える体制の構築が必要である。
- アプレイザルは非公開で行われる一方で、透明性の担保も求められる。従って、患者団体や臨床に携わる医療従事者をはじめとした、マルチステークホルダーの参画や情報提供も促すべきである。議論そのものや議事録などの公開も何らかの検討が必要である。

論点 7：医療機器と医療品では分析・評価方法などにおいて、異なるアプローチをとる必要性

- 医療機器は、医薬品に比べて技術進歩が短期間で期待できる領域である。従って、承認後に既存の分析方法において十分なデータが得られる前に、費用対効果が上がることも想定される。急速に進歩していく技術評価を、どのように価格に反映していくのか更なる議論が必要である。
- 医療機器はその特徴上、比較研究が少なく、ランダム化比較試験（RCT: Randomized Controlled Trial）の実施が難しく、費用対効果評価を行うために必要なデータが集まりにくい。また、医療機器領域には規模は小さな企業も多く、費用対効果評価を独自で行うインフラなどが整っていない。従って、データ収集から分析まで、医薬品とは異なる方法で、政府がどのようにサポートしていくのか議論が必要である。

論点 8：評価結果を直接的に価格反映すべきかを含め、価格調整の明確な方針決定の必要性

- 企業のインセンティブを高めるためにも（質の高いデータを公表してもらうためにも）、高評価の品目の価格は上げるといふシステムのほうが効果的という指摘もある一方で、費用対効果が良いからと企業が示す以上に価格を上げる必要もないという意見もある。
- 費用対効果評価の結果を価格反映以外に使う方法も議論されるべきである。例えば、評価が高ければ価格の引き下げ幅を減らすという価格調整の方法もある。他にも、評価結果が高いと期待される品目には、審査期間の短縮や支援など、研究開発時点でのインセンティブを高めることにも応用が検討できる。

本格導入に向けて更に議論が必要である課題について：

論点 9：国民への説明責任・説明方法（議論の内容、評価方法、価格の提示など）を明確にする必要性

- 保健医療システムは国民および患者生活に直結するテーマである。国民および患者の理解を得るため、HTA制度化の目的と経緯を分かりやすい方法で説明していく義務が、政府やステークホルダーにはある。特にHTAは、諸外国においてHTAの導入により医薬品へのアクセス制限がかけられたという事実もあり、命に価値をつけることに繋がるというセンシティブになりやすい領域である。
- 国民が今回の費用対効果評価制度化に信頼性を持つためにも、議論の可視化・透明化が必要である。そのためにもメディア側も理解を深め、高い倫理基準のもと関係ステークホルダーが協力し、信頼の獲得が求められる。
- 日本では、低い負担率で医療機関へのフリーアクセスが保証された国民皆保険制度のもと医療サービスを受けているため、HTA制度の意義を理解・納得してもらうことは困難だと考えられる。国民の理解度・納得度を上げるためにも、医療へのアクセスについて意思決定を行う権利があり、また行わなければいけないという意識を芽生えさせる抜本的な意識改革が必要である。

論点 10：費用対効果は良いが財政への影響が大きすぎる製品が増えた際、その影響をコントロールするための制度の議論の必要性

- 短期間での影響だけでなく、中長期的な影響や効果も鑑みることによって、医療費抑制につながる革新的なイノベーションを正當に評価し、インセンティブをつけていくことを可能とすべきである。
- 一方で、高額なイノベーションにより一時的に発生する大きな財政への影響を、何らかの形で対応するにあたっては、公平で説明可能な制度設計が必要である。

Keynote Speech 1: “Rebalancing Innovation & Sustainability - Japan’s case -”

► Yasuhiro Suzuki (Chief Medical & Global Health Officer, Vice-Minister for Health, Ministry of Health, Labour and Welfare)

Changes in the Environment Surrounding the Pharmaceutical Industry

- The environment surrounding the pharmaceutical industry has changed greatly in recent years. Many countries now face the problem of the spiraling medical costs. Taking a look at the top 15 pharmaceuticals in the world by sales, the number of biopharmaceuticals on that list increased from 2 items in 2001 to 9 items in 2015.
- Unlike conventional pharmaceuticals, biopharmaceuticals cost more, not only in terms of research and development (R&D), but also in terms of production. This is one cause of the medical cost inflation. The activities of Japanese pharmaceutical companies are limited in this area. Foreign pharmaceutical companies have an advantage in biopharmaceuticals.
- Outside of Japan, many global pharmaceutical companies have shifted toward buying the new discoveries and innovations from start-up companies and academia instead of developing their own new drugs. Japanese pharmaceutical companies, on the other hand, tend to do more in-house research and development, and they have fallen behind western companies. This is the reason why Japan is behind in R&D in the biopharmaceutical market.
- Taking a look at publication trends in major medical research journals by country, Japan is ranked relatively high in the volume of basic research papers, but the number of clinical research papers being published is on the decline. There exists a gap between basic research and clinical research.

The Pharmaceutical Industry in Recent Years

- Pharmaceuticals in Japan can be categorized into five groups: (1) patent drugs (for which new drug promotion premiums are applicable); (2) branded drugs for which there are no generics available (new drug promotion premiums are not applicable); (3) branded drugs for which there are generics; (4) generics; and (5) drugs listed before 1967.
- Out of all 19,876 items listed annually, generics account for approximately 50% (9,901 items), drugs listed before 1967 (including Chinese herbal medicines and so on) account for approximately 31% (6,200 items), branded drugs with generics account for approximately 8.1% (1,612 items), branded drugs without generics (new drug promotion premiums are not applicable) account for approximately 6.7% (1,327 items) and very new and innovative patent drugs (new drug promotion premiums applicable) account for approximately 4.0% (799 items). The latter 3 account for less than 20% of the total.
- Taking a look at annual drug expenses (9.2 trillion yen), the sale of generics and drugs listed before 1967 account for approximately 21.6% of the total, while the sale of patent drugs (new drug promotion premiums applicable), which make up a small share of the total number of items listed, account for 75% of total drug expenses.
- In the off-patent market, sales of generics account for approximately 90% of all sales in US and 70% in EU. In Japan, they account for about 40% of all sales. This number is low, but is expected to rise up to 80% in the future.
- The size of Japanese pharmaceutical/medical device companies is relatively small in comparison to such companies in other countries. With biopharmaceuticals, which require a lot of investment, becoming more mainstream, the Japanese healthcare industry needs to change.





The Promotion of Japanese Pharmaceutical/Medical Device Companies

- MHLW has created a new scheme for regenerative medicines that enables manufacturers to use a conditional, time-limited, and expedited approval process once the medicine has been proven efficacious and proven safe (under the he Partial Amendment of the Pharmaceutical Affairs Act and other Acts as well as related legislation). This scheme has drawn global attention, as it makes Japan's approval process among the fastest in the world.
- Some are calling for a drastic reform of the drug pricing system, including the complete overhaul of the new drug promotion premium system. I hope to see deeper discussion among all stakeholders on this issue.

Increased Medical Expenses and the Future of Japanese Medical Policy

- Medical expenses grew by 3.8% in FY2015. Within that, 1.2% was related to the aging of the population, while another 1.5% was due to increased pharmaceutical costs. The remaining 0.9% related to outpatient medical care. The increase in pharmaceutical costs was not attributable to increases in technical fees, but to increases in pharmaceutical material costs, of which chemotherapy drugs account for 0.77%. In addition, use of the high-cost medical expense benefit system is on the rise.
- When discussing the issue of increased medical expenses, it is important to look at the issue from mid-to-long-term perspectives. Innovative drugs that have a dramatic impact, such permanent cures, are sometimes cost-effective in the long-run. It is not enough to think of solutions only for the short-term, such as restricting the use of chemotherapies.
- Medical expenses should not to evaluated in terms of only a single-year or the costs of care. It is better to consider this issue from many perspectives, including the economic impact of having more people working in good health in society.
- In order to make the healthcare system sustainable after the mid-21st century, the following 4 points are considered important:
 - (1) Improve the R&D Environment
Good examples are artificial intelligence (AI) and cancer genome research. Both the public and private sectors should create environments that facilitate research and development.
 - (2) Utilize the Conditional Expedited Approval Systems
Promote R&D and cut unnecessary costs by expanding the conditional expedited approval system, which is only currently applicable to regenerative medicines.
 - (3) Improve the Post Marketing Surveillance (PMS)
Collect data cheaply and rapidly by constructing real-world (RWD) databases such as the Medical Information Database Network (MEDI-NET). Use these databases to analyze medical information (electronic health records, laboratory data, health insurance claims, etc.), and provide tentative scientific evidence on safety and drug effectiveness.
 - (4) Healthcare Technology Assessments (HTA)
Evaluate pharmaceuticals that were approved under rapid conditions based on scientific evidence obtained through HTA.

- Shinya Saito (Professor, Graduate School of Health Sciences, Okayama University / President, ISPOR Japan) Academic History of Health Technology Assessment (HTA)

Academic History of Health Technology Assessment (HTA)

Definition of HTA

- When discussing HTA, it is important to consider the definition of terms such as EBM (evidence-based medicine), VBM (value-based medicine), CER (comparative effectiveness research), and HTA itself.
- The International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) defines HTA as “a form of policy research that examines the short- and long-term consequences of the application of a health care technology.”
- The International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) defines HTA as “a multidisciplinary field of policy analysis that examines the medical, economic, social, and ethical implications of the incremental value, diffusion, and use of a medical technology in health care.” This is a broader interpretation than ISPOR’s definition.
- While EBM focuses on evidence creation/synthesis and decision-making efficiency, VBM emphasizes effectiveness and value. HTA places importance on decision-making in the real world, typified by its use of “real world data (RWD).”

History of HTA

- Outside of Japan: Technology assessments (TA) were first done in the environmental field in the 1960’s in the United States. The United States established the Office of Technology Assessment (OTA) in 1972, and applied TA to the evaluation of the federal government – specifically Medicare and Medicaid – giving birth to a new field, “health technology assessments.” Unfortunately, the OTA was abolished in 1995 due to budget cuts. HTA as we know it today is really the evolution of the kind of HTA that started to be done in Europe in the 1980s. Many organizations were set up globally to promote this kind of HTA in the 1990s.
- Within Japan: “Technology assessment in the medical field” was first mentioned in the White Paper on Science and Technology by the Ministry of Education, Science, Sports and Culture in 1974. HTA was taken up again as a topic of the health science grants system in 1990, and the “Review Committee on Health Technology Assessment” was set up in 1996. Eventually, HTA was replaced by EBM (evidence-based medicine) in the discussions of that Committee. Although many expected at one time that HTA would be used to support everything from policy making to the development of guidelines, as of yet, Japan has not established any Government organization specializing in HTA. That said, the Chuikyo Cost Effective Evaluation Committee was established in 2012, and it has held discussions on HTA.

Use of HTA

HTA is typically used for three main purposes: (1) When announcing evaluation standards; (2) when developing criteria for drug reimbursement decision-making; and (3) when considering reimbursement prices

- Many countries use HTA to set reimbursement prices. However, the specifics of each system are different, depending on whether they use HTA for drug reimbursement decision-making or not.
- In places where HTA results are not used as criteria for drug reimbursement decision-making, it is sometimes the case that HTA is used as a price bargaining tool. The results of HTA are then reflected in drug pricing through such negotiations.
- Although there are different pros and cons to every evaluation method, since there is the possibility that a single product may have several prices, depending on how it is prescribed. Many have proposed the use of measures such as the use of comprehensive assessment methods, where several incremental cost-effectiveness ratios (ICERs) obtained from analysis results are weight-averaged by the proportion of patients using the drug in question.



Points to Consider for the Introduction of HTA into Japan

The following discussion points need to be taken into consideration:

Criteria for Selecting Pharmaceuticals and Medical Devices as Targets of HTA

- Pharmaceutical analysis guidelines cannot be applied to medical devices. Medical devices are very different from pharmaceuticals in nature. Analysis guidelines specific to medical devices are needed.
- Further discussions are needed when selecting products. Issues to be considered include: is it possible to increase premium rates for innovative items in a way that reflects their value? How should drug pricing rules be adjusted for items that have a large market share, taking into account their impact on the finances of the health system?
- Drugs for rare diseases, and for pediatric diseases that lack sufficient treatment options, should be exempt from HTA.

Comprehensive Appraisals from Ethical and Social Perspectives

- When reassessing innovations using HTA in cases where prices have already been set, it is crucial that assessments do not cover aspects of the innovation that have already been assessed. Furthermore, while drugs for pediatric diseases should be exempt from HTA, there may be cases in which these drugs are still subject to HTA for adult indications, and in such cases, it is necessary to carry out the evaluation carefully.
- With regards to severe chronic disease treatments that can prolong the lives of patients, there needs to be careful but flexible discussions. These discussions should take into account social and cultural values and consider case studies from other countries, including the United Kingdom's End of Life Scheme (EOL).
- As for drugs used to treat diseases with few alternative treatment options, it is possible that there may be disagreements among the third-party organizations that conduct cost-effectiveness analyses, the companies making the treatments, and patients, regarding treatment opportunities, alternative treatment possibilities, and so on. These issues must be addressed.

Toward the Full-Scale Introduction of HTA

- Discussion on the introduction of cost-effectiveness analyses was started at Chuikyo as a countermeasure to the impact of expensive medical technologies on healthcare insurance budgets.
 - The Basic Policy on Economic and Fiscal Management and Reform 2017 states, “(the Government) will conduct a full reform of the National Health Insurance drug price system by formally introducing cost-effectiveness analyses, to balance the ‘sustainability of the universal healthcare system’ with the ‘promotion of innovation’ and to realize the ‘alleviation of the burden on the public and ‘improvement of the quality of healthcare’ in such a way that benefits the public.”
- It is important to note that cost-effectiveness analyses are not aimed at lowering drug prices.
- In the United Kingdom, the National Institute for Health and Care Excellence (NICE) has advocated that the public has the legal right to use drugs recommended as being cost-effective and the Government has the responsibility to offer such drugs to the public. National Health Service (NHS) budget impact thresholds are so high that some drugs have been evaluated as being “cost-effective” but “not affordable,” which is something that has provoked great controversy there.
- It is necessary to establish a consistent and transparent system that ensures the independence of institutions conducting cost-effective analyses and provides high quality healthcare and cost-effective pharmaceuticals to the public, while also considering the sustainability of the healthcare insurance budgets.



Round Table “The Current Status, Challenges, and Opportunities of HTA in Japan”

❖ Participants: (Honorifics and titles omitted, in no particular order)

- **Manabu Akazawa** (Professor, Meiji Pharmaceutical University, Department of Public Health and Epidemiology)
- **Ataru Igarashi** (Assistant Professor, Graduate School of Pharmaceutical Sciences, The University of Tokyo)
- **Mamoru Ichikawa** (Principal Program Director, Production Center I Science Programs Division,
Program Production Department, Japan Broadcasting Corporation (NHK))
- **Eun-Young Bae** (Professor, School of Pharmacy, Gyeongsang National University)
- **Yoshie Onishi** (Director, Japan Operations, Creativ Ceutical)
- **Chris Hourigan** (President, Janssen Pharmaceutical K.K.)
- **Kevin Haninger** (Deputy Vice President, International Advocacy,
Pharmaceutical Research and Manufacturers of America(PhRMA))
- **Koen Torfs** (VP Global Reimbursement & Real World Evidence,
Janssen Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson)
- **Yasushi Goto** (Department of Respiratory Medicine, National Cancer Center Hospital)
- **Hidehito Kotani** (President, Panasonic healthcare Holdings Co., Ltd., President, CEO, CTO, Panasonic Healthcare Co., Ltd.)
- **Shinya Saito** (Professor, Graduate School of Health Sciences, Okayama University/ President, ISPOR JAPAN)
- **Naomi Sakurai** (President, Cancer Solutions Co., Ltd. / Patient Representative, Cancer Control Promotion Council)
- **Takeru Shiroyiwa** (Senior Researcher, Department of Health and Welfare Services, National Institute of Public Health)
- **Makoto Tamura** (Director, Medical Technology Policy Institute American Medical Device and Diagnostic
Manufacturers’ Association (AMDD) / Founder and CEO, Healthcare System Planning Institute)
- **Hiroshi Nakamura** (Professor, Business Environment, Graduate School of Business Administration, Keio University)
- **Ryu Niki** (Adviser and Professor, Nihon Fukushi University)
- **Philippe Fauchet** (Vice Chairman, European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA) Japan/
Chairman, GlaxoSmithKline K.K.))
- **Yoshiyuki Majima** (President, Pancreatic Cancer Action Network Japan)
- **Junichi Matsumoto** (Executive Board Member, Japan Medical Association)
- **Kaoru Manabe** (Director, Medical Education Division, Ministry of Education, Culture, Sports,
Science and Technology (MEXT))

❖ Moderator:

- Ryoji Noritake (President, Health and Global Policy Institute)
- Joji Sugawara (Associate, Health and Global Policy Institute)



Overview

A total of 48 special committee meetings have been held so far (as of October 5, 2017) since the first meeting of the Chuikyo Cost Effective Evaluation Committee in 2012.

It is clear from the “Basic Policy on Economic and Fiscal Management and Reform 2015” (adopted by the Cabinet on June 30, 2015), the “Basic Policy for Drastic Reform of Drug Pricing System” (announced on December 20, 2016), and the “Basic Policy on Economic and Fiscal Management and Reform 2017” (adopted by the Cabinet on June 9, 2017) that HTA is a topic of great interest for Japan right now. Since FY2016, HTA has been used on a trial basis to evaluate the cost-effectiveness of 7 pharmaceuticals and 5 medical devices.

Discussion on HTA is heating up in Japan. As a part of that, it is important that there be more discussion on the topics of HTA implementation methods and how to reflect HTA results in pricing systems in particular.

Based on the discussions held thus far at the 5th October, 2017 at *Chuikyo*, HGPI has drafted 10 points for discussion related to **cost-benefit analysis procedures** and **issues that need further discussion as Japan prepares for the full-scale introduction of HTA**. These 10 points have been extracted and compiled by the organizer of the Global Expert Meeting based on discussion during that meeting, and do not necessarily represent the opinions of all meeting participants and doesn't reflect the discussion when the report is published.



How Companies Should Submit and Analyze Data:

Current Proposal:

Based on the Analysis Guidelines of the Study on Evaluation Methods, Data Standardization and the Construction of an Evaluation System in Response to the Health Economics Evaluation Policies, a number of manufacturers and distributors have been selected for participation in cost-effectiveness evaluations. These companies are required to conduct analyses, and submit information on their results and the methods they used. If necessary, companies may be asked to participate in preliminary consultations on methodological validity with the Chuikyo Cost Effectiveness Evaluation Committee if they elect to use methods other than those laid out by the aforementioned Analysis Guidelines.

Discussion Point 1: The Need to Create a System to Collect High Quality Data

- Data used in analyses should be credible to a certain extent. Japan currently lags behind the rest of the world in terms of the construction of the kind of databases needed for HTA. It is crucial that private sector organizations participate in preliminary consultations with agencies such as the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) on the construction of a system that could collect high quality data from clinical trials for use in HTA, and on the improvement of medical ICT.
- To that end, it is necessary to construct an incentive system that could motivate companies whose products have been selected for cost-effectiveness evaluations to collect high quality data at all times (for example, by creating a mechanism to secure or raise the prices of the products proven to be cost-effective by the empirical experience and RWD.)

Discussion Point 2: The Possibility of Analyzing and Evaluating Data Without Determining WTP

- The Incremental Cost Effectiveness Ratio (ICER) is a benchmark that can be used to determine the relative merits of the cost-effectiveness of selected products. In addition, there are discussion on whether the threshold determined by the WTP (Willingness to Pay) would be eligible to be used in any condition. Cost-effectiveness is considered to be low if the ICER is greater than the WTP, and cost-effectiveness is considered high if the WTP is greater than the ICER.
- There is always uncertainty involved with ICER values. In recent years, some have questioned the reliability of analysis results using ICERs. It is difficult to calculate WTP values accurately without a data collection system.
- It is important that there be further discussion on the necessity and validity of the “Survey on WTP in Japan” which is currently being conducted. In the United States, a WTP threshold is not clear what research was used to set that benchmark. In the United Kingdom, discussion is currently underway on increasing the WTP threshold in response to the state of national healthcare finances.
- The proper threshold can change over time and differ greatly from disease to disease. Especially given the environment in Japan, where the universal healthcare system means that there is access to medical services, pharmaceuticals and so on at less than 30% of the cost of each service or item, it is highly likely that it will be hard for the public to understand what it really means to reflect the results of analyses in prices.
- Some opinions have been expressed that Japan should learn from countries that evaluate costs without determining WTP (such as Australia) or other existing treatment-related expenses.

How to Conduct Secondary Analyses:

Current Proposal:

Companies are to submit the data necessary for secondary analysis so that a group of external specialists in an official and neutral position working in specialized facilities, such as academic institutions, can conduct secondary analyses. Specialists for secondary analyses shall be selected using strict regulations that take into account conflicts of interest.

Discussion Point 3: The Need for Scientific and Fair Communication Between Companies and Secondary Analysis Groups

- During pilot studies, both companies and secondary analysis groups have learned the lesson that a lack of communication can be a problem. For secondary analyses, it is indispensable for the companies, which know their products very well, to provide information and establish a mechanism which allows comparison of each results. There needs to be some kind of forum where scientific and fair information and opinions can be exchanged for the purpose of secondary analyses. It is crucial to also consider conflicts of interest when thinking about that.

Discussion Point 4: The Need to Foster Personnel Who Can Work Actively as Analysts in Secondary Analysis Groups

- Japan faces a severe lack of personnel who can work as analysts in secondary analysis groups. It worth considering how to prepare personnel who know the medical field (such as clinicians) to become part of secondary analysis groups. The current lack of personnel has caused external specialists to feel overworked, lowering the quality of analysis results. In preparation for the full-scale introduction of HTA, it is necessary to rapidly foster members of academia and analysts specialized in HTA. Japan should seek out people who can work on HTA not only from the current, limited number of organizations participating in this issue, which have limited resources, but also from the pool of talent existing elsewhere in Japan and overseas.

Discussion Point 5: The Need to Publicize Secondary Analysis Results, and How that Should be Done

- It is still unclear how secondary analysis results from the HTA pilot studies will be published. In order to gain public understanding, it is necessary that these pilot stage results be published.

How to Conduct Appraisals:

Current Proposal:

Based on analysis results submitted by companies and secondary analysis groups, the Chuikyo Cost Effective Evaluation Committee will conduct discussions from an expert point of view and prepare evaluation results. This discussion will be closed to the public. Manufacturers and distributors will be present during the discussions at the Chuikyo Cost Effective Evaluation Committee, and will be allowed to state their opinions. Additional analyses may be required of them depending on the results of each evaluation.

Discussion Point 6: The Need to Secure Fairness and Transparency in Appraisal Methods

- There is always uncertainty in assessment results. The results of analyses should be thought of as mere indicators that represent possible values. There should be further discussion on how much flexibility will be allowed in evaluating results (including taking socio-ethical factors into account). It is important to consider the balance and distinction between assessments and appraisals.
- An extremely high level of fairness is required for appraisals. A decision-making system should be set up that can take into account the fact that uncertainty can differ according to the type of diseases and the pharmaceutical.
- Appraisals will be conducted behind closed doors, but there also needs to be transparency in the appraisal process and information. It is therefore important to encourage participation by multiple stakeholders, including patient groups and healthcare professionals engaged in clinical practices. There should be more discussion on how to make the content of discussions and meeting minutes public.

Discussion Point 7: The Need to Take a Different Approaches for Analysis and Appraisal Depending on Whether a Medical Devices or Pharmaceutical is Being Considered

- It is generally expected that technological advances happen quicker for medical devices than pharmaceuticals. Given the speed at which advances happen, it is reasonable to expect that medical device cost effectiveness might increase following PDMA approval even before sufficient data on each device can be obtained. Further discussion is needed required on how to reflect assessments off rapidly progressing technology into the pricing system.
- In general, there are less comparative studies of medical devices available. It is difficult to conduct randomized controlled trials (RCTs) on medical devices. All of this makes it difficult to gather the data necessary for HTA. Also, many companies in the field of medical devices are small and do not have the infrastructure to perform HTA on their own. Further discussion is required on how the Government can support HTA on medical devices from data collection to analysis in a way that is different from pharmaceuticals.

Discussion Point 8: The Need to Set a Clear Policy on Price Adjustments, Including Whether or Not to Directly Reflect HTA Results in the Pricing System

- While it has been pointed out that it is more effective to have a system which can raise the prices of products that are highly effective in order to incentivize companies (to submit high quality data), there also exists the opinion that it is not necessary to raise prices higher than the price companies initially set as that price is clearly cost-effective for them.
- Ways to utilize HTA results other than just setting prices should be discussed. For example, it might be possible to create a system that decreases price reduction rates for products with good HTA results only. Japan might also consider giving incentives during R&D phases by shortening the PMDA review process or offering extra support to products expected to have produce evaluation results.

Further Discussion Required for Full-Scale HTA Introduction:

Discussion Point 9: The Need to Clarify Public Accountability and How to Accomplish That (Discussions, Evaluation Methods, How to Present Prices, etc.)

- The healthcare system directly impacts the lifestyle of the public and patients. The Government and all relevant stakeholders have a responsibility to explain the purpose and background of the HTA system clearly in order to gain public and patients understanding. It is especially important to consider that HTA can be a sensitive issue. In some countries, people have come to have less access to their preferred medication after an HTA program was put in place.
- In order for the public to have confidence in the institutionalization of HTA, it is necessary to have public discussions that are both visual and transparent. To this end, it is crucial that the media have a deep understanding of the system and that stakeholders cooperate together to win public trust by demonstrating high ethical standards.
- It may be difficult to gain public understanding and acceptance of HTA, because in Japan, the national healthcare system ensures that people have free access to healthcare institutions at a low self pay ratio. In order to gain public understanding, the relevant stakeholders need to drastically raise people's awareness of the fact that they have a right to make decisions about medical access and that they should do so.

Discussion Point 10: The Need for Discussion on a System that Could Control the Impact of Products that are More Cost-Effective than their Competitors Yet Also More Expensive in Absolute Terms, Dramatically Impacting Health System Finances

- By taking into account not only the short-term impact of an innovation, but also its mid-to-long-term impact, it should be possible to evaluate the innovation fairly and incentivize groundbreaking innovations that lead to controlled healthcare spending.
- A fair and accountable system is needed to respond to the great but temporary impact of expensive innovations on public finances in one way or another

日本医療政策機構とは

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。

About Health and Global Policy Institute (HGPI)

Health and Global Policy Institute (HGPI) is a Tokyo-based independent and non-profit health policy think tank, established in 2004. Since establishment, HGPI has been working to help citizens shape health policies by generating policy options, and to bring stakeholders together as a non-partisan think-tank. The mission 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 by catalyzing society for impact. We commit to activities that bring together relevant players in different fields, in order to provide innovative and practical solutions, and to help interested citizens understand choices and benefits in a global, broader, and long-term perspective.

協賛：

ヤンセンファーマ株式会社、政策研究大学院大学（GRIPS）

著者：

菅原 丈二	（日本医療政策機構 アソシエイト）
杉本 亜美奈	（日本医療政策機構 シニア アソシエイト）
今村 優子	（日本医療政策機構 シニア アソシエイト）
乗竹 亮治	（日本医療政策機構 事務局長）

Sponsored by:

Janssen Pharmaceutical K.K., National Graduate Institute for Policy Studies (GRIPS)

Authors:

Joji Sugawara	(Associate, HGPI)
Amina Sugimoto	(Senior Associate, HGPI)
Yuko Imamura	(Senior Associate, HGPI)
Ryoji Noritake	(President, HGPI)

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
Otemachi Financial City Grand Cube 3F 1-9-2, Otemachi Chiyoda-ku, Tokyo 100-0004 JAPAN
Tel: +81-3-4243-7156 Fax: +81-3-4243-7378 E-mail: info@hgpi.org

