

「フェローによる政策提言プラットフォーム」プロジェクト

## 価値に基づく医療システムの構築に向けて

提言書

五十嵐 中

日本医療政策機構 フェロー

横浜市立大学医学群 健康社会医学ユニット 准教授

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学 客員准教授

特定非営利活動法人 日本医療政策機構

2022年4月22日

(発表内容は、発表者の個人的見解であり、組織を代表するものではありません)

## エグゼクティブサマリー ～価値に基づく医療システムの構築に向けて～

日本医療政策機構は、政策提言「価値に基づく医療システムの構築に向けて」を公表しました。

当機構では、2022年度より当機構に所属するフェローをはじめとした関係者が、個別に政策提言を発表し推進できる「フェローによる政策提言プラットフォーム」プロジェクトを始動しています。フェローらが喫緊の課題とする政策提言を、当機構内に設置する審査委員会で精査し承認し、賛同のうえ、当機構が発行する政策提言の一環とすることで、政策に関心を持つ市民に選択肢を提示し、創造性に富み実現可能な解決策を示していきたいと考えております。

プロジェクトの第1弾として、昨今国際的にも議論が興隆している「価値に基づく医療システムの構築に向けて」をテーマとし、当機構フェローである五十嵐中氏が政策提言を行いました。本提言では、革新的医薬品を評価するための多面的な薬剤の価値に基づく薬価制度、Value-based pricing (VBP) を提案しています。なお、発表内容は発表者の個人的見解であり、組織を代表するものではありません。

### 1 保健医療システムの持続可能性

- 少子高齢化、医療の高度化による医療費の増大に向けた対策は喫緊の課題
- 医療サービスの効果は、「雇用誘発効果・生産波及効果」と「患者が得られる効果」の2つに区分され、後者では生産性損失や介護費用など幅広い観点のコストに影響する。医療の価値を再定義する必要がある
- 保険システム持続のため、薬価制度改定（薬価の引き下げ）に焦点が当てられていたが、薬剤が医療費に占める割合は約20%であり、この方法のみで医療費削減、医療全体の効率化は困難
- 現行の価格調整システムは、医薬品が広く使用されるようになった際、価格が大幅に引き下げられる設計となっており、日本における国際的な薬剤のイノベーションの阻害につながりうる

### 2 価値に基づく薬価の方法論

- 多面的な価値の反映を行うための具体的な量的・質的評価手法として、VBPを提言する
- VBPは、「安全性や有効性、さらには経済性など、多面的な要素を価格に反映させる」もの
- 定量化が難しいアンメットニーズの大きさや疾患の重症度・希少性などの要素についても、意思決定の基準を可変化することなどで疑似的な定量化をすることができる

### 3 具体的な薬剤の価値評価

- 現行の薬価価格と現時点で入手可能なデータをもとにした「定量化が可能な範囲に絞った積み上げ価格」を比較すると、対象薬剤により価格の大小関係が大きく異なった
- 短期間の治療で著効を示す領域では、積み上げ価格が現行価格を大きく上回るが、重篤な疾患で延命効果も小さい領域では、現行価格よりも著しく低い積み上げ価格となった
- 抗がん剤のような薬剤はアンメットメディカルニーズが高いものの、薬剤の価値が価格に反映されず、定量的な価値積み上げだけでは、アクセス制限につながるリスクがある
- 直接定量化できない定性的な価値も最終的に薬価に反映させるシステムとして、定量的・定性的価値の両方を評価するVBPが有用である

## 提言「価値に基づく医療システムの構築に向けて」

本提言は、下記に示す3つの要素“システムの持続可能性・イノベーションの評価・改革の実装化”に基づき、複数のステークホルダーと議論した上で作成した。それぞれの要素に対する見解を下記に示す。また、提言の第一弾として、価値に基づく薬価制度に関する提言を行う。

### 保健医療システムの持続可能性

少子高齢化、医療の高度化による医療費の増大にむけた対策は喫緊の課題である。公的医療制度を導入するすべての国において、新規の医薬品へのアクセスを確保しつつ、持続可能な社会保険制度を維持することは共通の課題となっている。あわせて、新型コロナウイルス感染症により医療資源そのものの有限性が可視化され、広く共有された現在において、これまでのような医療費増大を自己負担増大・税金や社会保険料の増大でまかなうスタイルではなく、給付そのものにメリハリをつける形での課題解決も視野に入りつつある。

医療の効率化については日本でも、他国と比較し長い入院日数、重複受診、多剤服用（ポリファーマシー）といった改善の余地のある医療行為が問題視されてきた。一方で、低価格で高い質が担保されている基礎的な医療、治療効果の高い先進的な治療などは患者にとっても、社会的にも価値の高い医療行為である。

佐藤ら (2021)<sup>1</sup>は、医療サービスのもたらす効果を、マクロ的な観点の「雇用誘発効果・生産波及効果」とミクロ的な観点の「患者や家族が得られる効果」の2つに区分する。前者については、医療サービスは他産業のそれと比較しても雇用誘発・生産波及効果が大きく、なおかつ地域・環境を問わず需要が存在する。後者については、医療費以外にも生産性損失や介護費用など、幅広い観点のコストに影響することを指摘し、医療費の多寡「以外」の要素も含めて広く医療の価値を再定義することが重要と述べている。あわせて、医療保険システムのみならず、イノベーションの持続可能性も視野に入れた政策形成を提唱している。

これまで保険システムを持続させるための施策、より具体的には医療費の増大に対処する施策は、薬価制度の改革（基本的には、薬価の引き下げ）に焦点があてられていた。しかし薬剤費が医療費全体に占める割合は約20%（中医協2021<sup>2</sup>）にすぎず、この方法のみでの医療全体の効率化の達成はやや困難である。また、現行の価格調整システムは革新的な医薬品が臨床現場で広く受容されたことによる売り上げの増大が、価格の大幅引き下げをもたらす設計になっており、前述のイノベーションの持続可能性には負の影響をもたらす。

現行の薬価制度とイノベーションについては単なる問題提起にとどまらず、多面的な価値をより適切に反映する新たな制度の提案も複数ある（INES2021<sup>3</sup>, 日刊薬業2022<sup>4</sup>）。しかし具体的な新規制度の議論は、十分になされてこなかった。

本プロジェクトは、薬剤費に限定せず、より広い視点から「医療制度の効率化」と「イノベーションの促進」の両立を考えるものである。今回の第一提言は、さまざまな論点の中で現時点ですでに施策が存在し、当事者団体を含めた種々のステークホルダーからの議論も活発化している“価値に基づく薬価制度”に関して、より具体的な提言を行うことを目的とする。

### イノベーションの評価 -多面的な価値の評価について

多面的な価値の反映について、より具体的な検討を行うべく、複数の既存薬剤を用いてVBPの実現可能性に関する検証を行った。本来の意味でのVBPの実現には、定量的な価値と定性的な価値を両方評価する必要がある。しか

<sup>1</sup> 佐藤主光【監修】. 国民皆保険制度を次世代に引き継ぐために～給付と負担の再構築に向けた一考察～. 日本パブリックアフェアーズ協会, 2021. [URL: <https://www.j-paa.or.jp/policyproposal/556>]

<sup>2</sup> 中央社会保険医療協議会. 令和3年8月4日 薬価専門部会（第180回）. 薬-2 薬価改定の経緯と薬剤費及び推定乖離率の年次推移について. [URL: <https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000816054.pdf>]

<sup>3</sup> INES（新時代戦略研究所）. 財政の持続可能性と整合的な新たな薬価制度改革案. URL: <http://inesjapan.com/wp/wp-content/uploads/2021/05/document-20210528.pdf>

<sup>4</sup> 紀平薬剤管理官「供給や薬価差も考慮し見直す時期」 薬価制度改革, RS学会シンポで議論. 日刊薬業 2022.4.16.

し定量化可能な部分でどの程度説明可能かについても、実地検証はなされていない。そこで異なる疾患領域を対象とした複数の薬剤を抽出した上で、現時点で利用可能なエビデンス (医療費・生産性損失・介護費・QOL の改善など)をもとに、どの程度までの定量化が可能かの試算を行った。

結果として、定量的な価値評価のみでの積算には限界も多く、著しく低い価格となるケースもみられた。VBP の実装のためには、定性・定量の双方を評価する必要性が明らかになった。

### **改革の実装化**

医療全体の最適化が必要であることは疑いない。今回の第1回目の提言は、すでに産官学ともに議論が先行している薬剤費への価値の反映のあり方に焦点をあてて議論したものである。今後は薬剤費以外の領域について、コンセプトの提案だけではなく、実装化に向けて必要なプロセスなどについても様々なステークホルダーとの議論を重ねた上で、第2、第3の提言と、提言内容の社会実装を目指す。

## 提言「価値に基づく医療システムの構築に向けて」

### 第1回： 価値に基づく薬価制度の提案

今回の提言（2022年4月版）では、提言「価値に基づく医療システムの構築に向けて」のうち、第1回目として、革新的医薬品を評価するための多面的な薬剤の価値に基づく薬価制度、Value-based pricing（VBP）を提案する。今後、その他の視点からも提言を重ねていく。

#### はじめに

少子高齢化、医療の高度化による医療費の増大にむけた対策は喫緊の課題である。しかし医療費の増大に対するこれまでの施策は、薬価制度の改革に焦点があてられていた。これまでの制度改革では、革新的な医薬品が臨床現場で広く受容されたことによる売り上げの増大が、価格の大幅引き下げをもたらす設計になっており、イノベーションの阻害要因ともなっている。薬剤費が医療費全体に占める割合は約20%にすぎず、単なる医療費削減を超えた医療全体の効率化は困難である。薬価制度の予見可能性が損なわれることは、国際的にみた日本の相対的地位の低下にもつながる。2020～2025年の日本市場の年平均成長率はマイナス2%～プラス1%と予測されており<sup>5</sup>、先進10カ国の中で唯一のマイナス成長が見込まれる。グローバルファーマの新薬の開発投資は日本ではなく中国に向き始めている<sup>6</sup>。

現行の薬価制度が、イノベーションの阻害につながりうることについては、さまざまなステークホルダーからの指摘がある。あわせて、単なる問題提起にとどまらず、多面的な価値をより適切に反映しうる新たな制度の提案も複数なされている。しかしこれまでの提言における「多面的な価値の反映」は抽象的なものにとどまり、実際の反映のさせ方や、価値そのものの量的評価・質的評価のあり方の議論は不十分であった。

多面的な価値を反映できる薬価システム、Value-based pricing(VBP)は海外でも様々な議論がなされている。VBPは単純な成果報酬型の支払システム(Performance-Based, Outcome-based payment)や費用対効果の評価(cost-effectiveness analysis)と混同されることも多い(Tsevat, 2018<sup>7</sup>)。実際VBPはこれらの概念と重なるものであるが、従来の評価法では捉えきれない広汎な価値を組み込む点が肝要である。短い期間の治療でほぼ寛解を目指すことが出来る今までと異なる治療法や、感染症・認知症といった社会的な問題を解決しうる治療薬の登場など、医薬品の市場は最先端の科学技術を駆使した研究開発投資を行うことで日々変化しており、価値として重視されるべき要素も随時変化していく。また、新たな医薬品の導入により、医療従事者の負担が軽減するケースや、患者が社会復帰できることによる社会への影響もあり、薬剤費のみに対する抑制は全体最適につながっているとは言い難い。

本提言では、日本でも様々なステークホルダーより望まれている“価値に基づく薬価制度“に関して、より具体的な提言を行うと同時に医療全体の最適化の必要性を目指し作成した。本提言により、“価値に基づく薬価制度“の実装化に向けた議論が加速することを期待する。

#### 価値に基づく薬価算定の方法論

VBPの考え方は、「安全性や有効性、さらには経済性など、多面的な要素を価格に反映させる」ものとして理解されている。もっとも、「安全性・有効性・経済性の3つの要素を測れば、価値評価としては十分である」「価値の要素は、すべて定量化可能である（あるいは、定量化できないものは価値とは言えない）」のような誤解も多い。実際には、いわゆる有効性・安全性・経済性以外にも、多くの要素が提案されており、その中には定量化が不可能なものも含まれている。「経済性の評価」として一般的に用いられる医療費・QALY以外の要素として、定量的な測定が可能で、実際の評価でも算入されているケースとしては、労働生産性、介護費用、インフォーマルケア（家族

<sup>5</sup> Exhibit 24: Global Invoice Spending and Growth in Selected Countries. [In: IQVIA. Global Medicine Spending and Usage Trends Outlook to 2025. IQVIA, 2021.]

<sup>6</sup> Exhibit 42: Number of drugs and country share of emerging biopharma pipeline Phase I to regulatory submission based on company headquarter location, 2006–2021. [In: Global Trends in R&D overview through 2021. IQVIA, February 2022. URL: <https://www.iqvia.com/-/media/iqvia/pdfs/institute-reports/global-trends-in-r-and-d-2022/iqvia-institute-global-trends-in-randd-to-2021.pdf>]

<sup>7</sup> Tsevat J, Moriates C. Value-Based Health Care Meets Cost-Effectiveness Analysis. Ann Intern Med. 2018; 169(5): 329-32.

など)の負担などがある<sup>8</sup>。一方でアンメットニーズの大きさや疾患の重症度・希少性などの要素は、定量化そのものは不可能であるものの、疾患によって意思決定の基準を可変化することなどで擬似的な定量化をもって対応している事例がある。現行の薬価制度における加算システムも、定性的な評価を「擬似的定量化」を通して加算率という量的な指標に転換したものである。以上を考え合わせれば、全てを予め定量化して評価することはそもそも不可能であり、定性的な要素をどのように明確化していくかの考慮が必要になる。このような部分も含めて価値に基づく薬価を算定することが、価値に基づく薬価の基本概念になる。

Jommi ら (2020)は、“Operational step for value-based pricing”として、価値の要素の特定 (Identification of value domains)・価値の測定 (Measurement of value)・測定値の統合 (Aggregation of measures)・測定した価値の価格への変換 (Conversion of value into prices)の4ステップを定義している<sup>9</sup>。そして“Unmet medical needs”や“impact on dignity”のような要素はそもそも定量的な測定は困難・不可能であり、段階的なカテゴリによる評価(治療上の追加的有用性のレベルなど)や二値スケールでの評価(アンメットニーズが大きい・小さいなど)の形で評価しつつ擬似的な定量化を実施し、最終的な薬価に反映させることを提言している。

図1 Value-based pricing の実施プロセス<sup>9</sup>

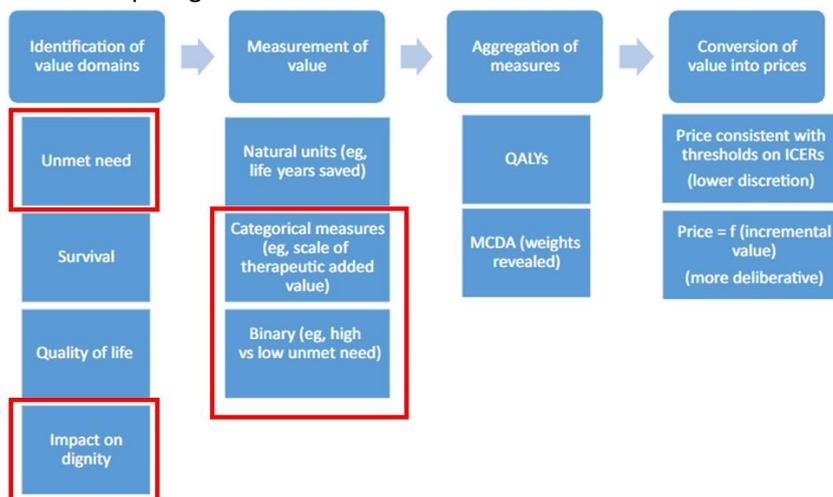


Figure 1. Operational steps for value-based pricing. ICER = incremental cost-effectiveness ratio; MCDA = multi-criteria decision analysis; QALYs = quality-adjusted life years. Elaboration on Sussex et al<sup>5</sup>.

本提言では、既存の薬剤の公開データを用いて定量的な価値のみを積み立てた場合に想定される薬価を算出することで、現状の薬価とどのような乖離が起こるかを具体的に示すことを目指した。

<sup>8</sup> Lakdawalla, D.N., Doshi, J.A., Garrison, L.P., et al. Defining elements of value in health care—a health economics approach: an ISPOR Special Task Force report. *Value Health*. 2018; 21: 131-9.

<sup>9</sup> Jommi C, Armeni P, Costa F, et al. Implementation of Value-based Pricing for Medicines. *Clin Ther*. 2020 Jan;42(1):15-24.

## 具体的な薬剤の解析

以下に示す4つの領域(C型肝炎、神経変性疾患、リウマチ、がん)について、論文などで公表されているデータをもとに評価を実施した。がんの薬剤に関しては、1種類のCAR-T治療薬と2種類の分子標的薬である。各薬剤の特徴は下記の表の通りである。

表1 解析を実施した薬剤の特徴

薬剤	特徴
C型肝炎治療薬	2-3ヶ月で投与終了、95%以上の患者が治癒
CAR-T	単回の投与で長期的な効果を示す次世代型医薬品
関節リウマチ治療薬	長期間の寛解の持続によってQOLが改善
神経変性疾患治療薬	医療費以外の介護費・インフォーマルケア費用の寄与大きい
がん分子標的薬 2種	進行がんの分子標的治療。対象患者は高齢者で、PFS・OSの延長は月単位

これらの薬剤に関して、定量化可能な部分についての「価値を反映した価格」の算定を試みた。医療費削減は、当該薬剤の導入に伴って置き換えられる薬剤の費用（すなわち、比較対照の薬剤の費用）と、薬剤の導入にともなう関連疾患の医療費削減を合算して求めた。

生産性（生産性損失）の改善や介護費・インフォーマルケアの改善効果も、同様に「当該薬剤を用いた場合と比較対照の薬剤を用いた場合の、あてはまる費用項目の削減効果」によって算出した。

QOLの改善は、当該薬剤の導入によるQALY改善幅を算出した上で、一般的な費用対効果の基準値とされる「1QALY獲得あたり500万円」を用いて金銭換算を行った。この手法そのものは、費用便益分析（cost-benefit analysis）の際に行われる「アウトカム改善の金銭換算・純健康便益（Net Health Benefit, NHB）の算出」と同様である<sup>10</sup>。

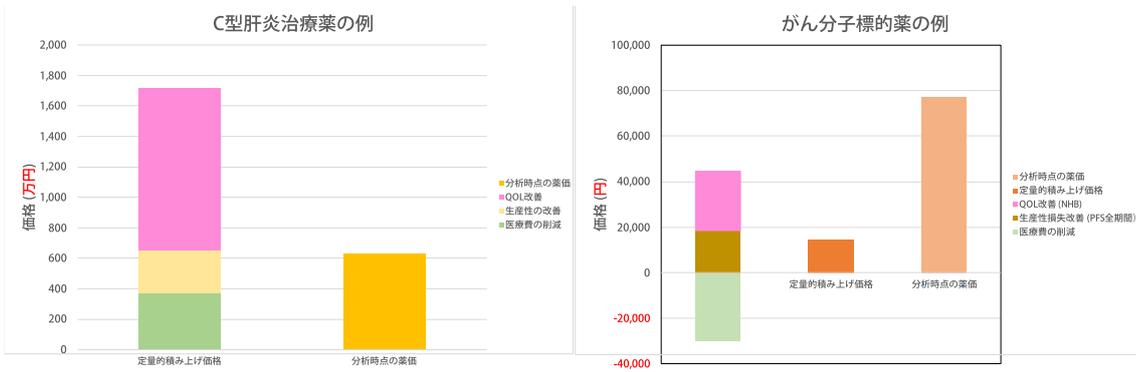
以上の手法で求めた「定量的積み上げ価格」を、薬価収載時の価格と比較した場合の増減幅を、表に示した。C型肝炎、CAR-T、関節リウマチの治療薬は、収載時薬価よりも高い価格になった。一方で、神経変性疾患、2剤のがんに関しては、収載時薬価よりも大きく下回る結果となった。C型肝炎、がんの分子標的薬に関して、実際の価格計算結果を図に示す。

表2 定量的な価値の算出結果

薬剤	医療費削減	生産性損失改善	介護費削減	インフォーマルケア費用削減	QOL改善	分析時薬価に対するVBP定量価値の増減
C型肝炎治療薬	○	○	—	—	○	+286%
CAR-T	○	○	—	—	○	+72%
関節リウマチ治療薬	○	○	—	—	○	+32%
神経変性疾患治療薬	○	—	○	○	○	-92%
がん分子標的薬	○	○	—	—	○	-91%
がん分子標的薬	○	○	—	—	○	-63%

<sup>10</sup> 例えば新薬の期待QALYが4.0QALY、既存薬で3.4QALYの場合、新薬の導入により0.6QALYを獲得できる。この0.6QALYに「1QALYあたり500万円」を乗じて、NHBは0.6×500万円=300万円となる。

図2 C型肝炎治療薬とがん分子標的薬の解析結果



今回の解析より、短い治療期間で寛解が期待できる薬剤、継続的な治療が必要であるもののトータルの獲得 QALY が大きい薬剤、適応患者が比較的若い疾患の薬剤は、「定量的積み上げ価格」が収載時薬価を上回った。一方で、治療の対象患者が比較的高齢者である場合や、対象疾患の重篤度が高い場合は、期待余命も短く、介入による延命効果も小さいことから、定量的積み上げ価格は収載時薬価を大きく下回った。本来の意味での「価値に基づいた価格」を設定するためには、擬似的な定量化などを通じて、定量化できない定性的な価値も最終的な薬価に反映させるシステムが必要と考える。

### 定性的な価値の評価

定性的な評価を実施する際に、どのような価値要素が定性的な価値評価にふさわしいかを提案する。下記の表にも示している通り、①重篤な疾患の治療薬②終末期の患者の延命をもたらす治療薬③希少疾患の治療薬④医療従事者の負担軽減を可能とする治療薬⑤イノベーションを、定性的な価値評価を行う要素の候補として挙げる。これらは、実際に海外において薬剤の効果・安全性・費用対効果以外の価値として、医薬品の特徴に基づいて評価されている要素でもある。また、実際に治療の受ける患者にとって、その薬剤の価値はどのようなものなのかを考慮する必要がある。例えば、がんの患者において一般的に臨床的な価値として判断される OS(全生存)や PFS(無増悪生存)といった価値とそれ以外の価値(副作用低減による QoL の改善、治療しながら就業を続けることができる)でどちらが重要視されているかということも評価する疾患領域に応じて議論されるべきである。

医療の供給側・医師が重視するアウトカム、例えばがん治療薬における OS や PFS は、医療の受け手である患者にとって必ずしも重要ではないこともある。個人差はもちろん大きくなるものの、患者本人がどの程度(残りの)人生を楽しめるか、さらに患者本人の価値観をどの程度家族などと共有できるかが重要である。長期の治療が続く場合は、治療を続けること自体が負担になるケースもある。また、長期の有効性・安全性のデータ次第で、その治療の価値は大きく増減する。後で述べる「価値に基づく価格の経時的アップデート」を図ること、医療提供者だけでなく医療消費者側の患者も価値評価の枠組みに積極的に関わっていくことが、正しい意味での「価値付け」には不可欠である。

我々は、定性的な価値は現在の薬価制度における加算のような、「一定のルールをつくって薬価に重みづけをする割合を決定する」方法が必要と考える。そこで、下記の表のような例が可能かと考える。①重篤な疾患の治療薬②終末期の患者の延命をもたらす治療薬③希少疾患の治療薬に関しては、既に UK の NICE にて ICER 値の良し悪しを判断する Threshold (閾値) の重みづけに用いられている<sup>11</sup>。重篤な疾患について Threshold value を変更することは、

<sup>11</sup> 英 NICE におけるももとの基準値 (2 万-3 万ポンド/QALY)や、重篤疾患治療・終末期治療の場合の基準値 (最大 5 万ポンド/QALY)、超希少疾病の治療薬の基準値 (10 万-30 万ポンド/QALY)のいずれも、「定量的な測定 (支払意思法など)」はなされていない。その意味では、現行の薬価加算ルールと同様に「擬似的な定量化」によって定められた数値といえる。

スウェーデンの HTA 機関・TLV<sup>12</sup>や、オランダの HTA 機関・ZIN<sup>13</sup>においても同様な運用がされている。これらを参考に下記の表にも示す通り、患者 QOL 改善の価値の重みづけを行う、最終的に算出される VBP の重みづけを行うといった案が運用可能と考える。

一方で、④医療従事者の負担軽減を可能とする治療薬⑤イノベーションに関しては、定量的な評価の運用例は、海外でも明文化されたルールはなく、基本的には質的な評価となる。企業側が新規介入による医療従事者の負担軽減をデータで示す、患者が治療の利便性向上のメリットを言及するなどの手法で、評価されるべき要素（あるいは、その改善）を示した上で、アプレイザルの場における議論を通して質的な評価がされている。日本で薬価算定の際にこれらの価値要素を組み込むためには、何らかの形でこれらの定性的な価値を定量的な価値へと変換する必要がある。薬価への反映法として、上記①・③で提案した重みづけ法、あるいは現行の薬価制度の加算方法のように全体薬価に対して加算をつける方法も可能と考える。これらを主張するためには、製薬会社側に説明責任が生じる。

表3 考えられる定性的な価値評価の例

価値の要素の例	提案する重みづけ例	海外における運用
海外で、擬似的な定量化プロセスによって「定性→定量」の事例がある要素		
疾患の重篤度	1. QoL・QALY改善を金銭換算する際の係数の変更 2. 算出した定量化価格全体に調整係数を乗算	UKでは、重篤な疾患や終末期の患者の薬剤の評価では、基準値を最大1.7倍(通常3万ポンド→5万ポンド)まで引き上げ US-ICERは、基準値を明示せずに、50,000ドル~20万ドルまで段階を踏んで"benchmark price"を提示
終末期の治療		
希少疾患		
「定性→定量」の事例がなく、値付けには新たな数値化が必要な要素		
医療負担の軽減	1. 医療負担の軽減で、「他疾患に投ずることができる」リソースの価値を計算(浮いたリソースを他に投入することで、救命可能→US ICERのCOVID治療薬のケース) 2. 計量が不可能なときは、通常の加算スタイル	UK, Canada, USでは、アプレイザルにて医療負担の軽減が考慮された事例がある。
イノベーション	1. Innovativeな製品に関しては、上の「重篤疾患・終末期治療」と同様に倍率を上乗せ 2. これまでの加算システムと同様に、最終結果にプラスαのpremiumを付与	UKなどでは、「innovative nature」を給付可否の決定の際の「プラス要素」として質的に評価した例あり

現行の薬価制度のように、基本的に行政側が薬価を決定するスタイルであれば、擬似的定量化のルールは予め策定する必要がある。すなわち、薬価は「A:現時点で定量化が可能な部分」と、「B: 擬似的定量化によって定性的な価値を価格に転換した部分」の二段構えとなる。

後段で述べるような企業側が薬価を提案するスタイルであれば、提案価格は「A:現時点で(データをもとに)定量化可能な部分」「B:擬似的定量化によって価格に転換した部分」に加え、定量化しきれない部分が残る場合は「C:定性的な価値による上乗せの妥当性を検討すべき部分」を追加して示すことになる。

### 新規薬価制度の提案

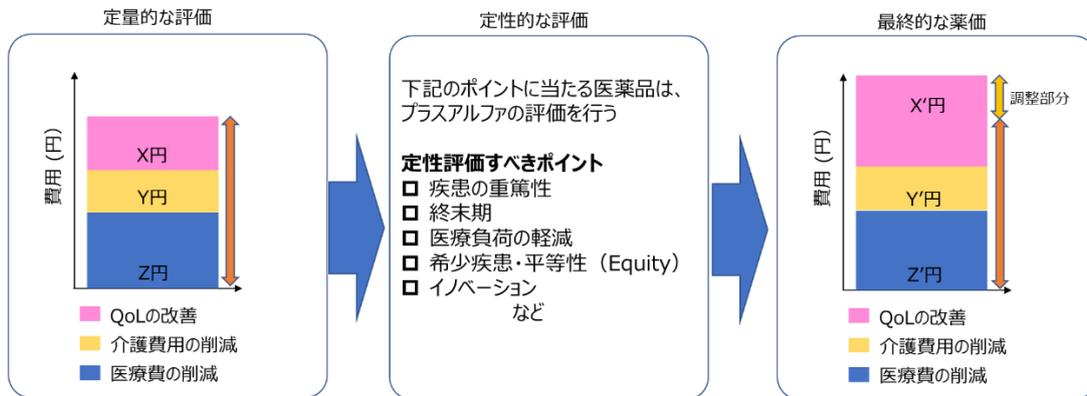
上記のような解析を踏まえ、我々は定量的な価値と定性的な価値を評価する価値に基づく薬価制度を提案する。今回の解析より、本方法を実装化するにあたり、どのようなことを今後議論していくべきかが明らかになった。今後、データをもって、様々なステークホルダーとの議論が必要であり、本政策提言をさらに発展させていく。

<sup>12</sup> Svensson M, Nilsson FO, Arnberg K. Reimbursement Decisions for Pharmaceuticals in Sweden: The Impact of Disease Severity and Cost Effectiveness. *Pharmacoeconomics*. 2015 Nov;33(11):1229-36.

<sup>13</sup> Franken M, Koopmanschap M, Steenhoek A. Health economic evaluations in reimbursement decision making in the Netherlands: time to take it seriously? *Z Evid Fortbild Qual Gesundhwes*. 2014; 108(7): 383-9.

図3 本提案の Value-based pricing の方法

定量的な価値積み上げと、定性的な価値評価をおこない、最終的な薬価を算定する



### 多面的価値に基づく薬価のライフサイクル

医薬品の価値は、時間の経過とともに、価値が変動すると考えられる。臨床試験で示されたアウトカム改善が、リアルワールドでは得られず価値が低下するケースもあれば、リアルワールドで真のアウトカムの改善が示されることや、アンメットニーズの大きい疾患領域に適応拡大することを通して、価値が向上するケースもありうる。また、価値の要素自体が、さまざまな外的要因で変化することもある（例えば、「医療資源の逼迫を回避できる」ことの価値は、コロナ禍前後で大きく変化したであろう）。

あわせて、特許の権利期間の満了後は価格引き下げ、イノベーションがなくなったことからジェネリック同等の価格を設定することも合理的であると考えられる。

現状、臨床現場で価値が認められ、多く使用されたため一定の市場規模へと拡大する薬剤については、市場拡大再算定による薬価の引き下げが行われている。市場拡大再算定は薬価を規則的に下げることが出来る手法であり価値に基づいた判断とは言えない。価値に基づく薬価の設定にあたっては、単なる市場の拡大のみで薬価を変動させるべきではないと考える。

一方で、そのような価値の変動を評価していくためには、薬剤の価値を継続的に精査するためのインフラが必要である。上市時のアクセスを阻害しない迅速な分析と薬価の承認、リアルワールドエビデンスに応じた薬価の再評価の実施、特許期間の満了時の薬価の精査などを行う必要がある。精査を実施するために必要なインフラに関しては、実装化において必須であり、今後さらなる議論、提言をしていく。

### イノベーション投資とシステムの持続可能性

システムのための持続可能性を考慮するのならば、医薬品 (医療技術)の価格を一律に引き下げることあり得るが、このようなシステムはイノベーションの持続可能性を大きく毀損する。それゆえ、単なる医療費の多寡ではなく、より広汎な視点から「価値に基づく価格」を再定義することには大きな意義がある。もちろん、価値の高いものについてそれを理由に高い価格を付与するのであれば、価値を十分に示せないものについては（あるいは、付加価値が低くなったものについて）価格を引き下げることが前提となる。

定量的な部分のみをとった場合でも、土台となるデータそのものに不確実性が存在することや、患者集団が複数存在する（複数の適応症や年齢による層別化など）ことを考慮すると、「価値」を一意に定量化することは困難であり、このため「価値に基づく価格」を一意に定めることも難しい。有効性や安全性・効率性の数値にも幅があることと同様に、

「価値に基づく価格」もある程度の幅があり、何らかの形で分布として評価する必要があるだろう。また、薬剤によって疾患が治癒したことを価値付けする際にも、医薬品そのものの寄与がどの程度あるのか（他の要因、例えば医療体制の変化などの影響がないか）についても考慮する必要がある。

行政側が薬価を決定するスタイルの場合は、価格全体について何らかの理由付けが必要になる。前述の通り、A: 現時点で直接データからの定量化が可能な部分と、B: 定性的な価値を、擬似的定量化によって金銭転換した部分

を合算したものが「価値に基づく価格」となる。Bの手法のみならず、Aについての不確実性をどのように検討するかについても、予め確定される必要がある。

現時点でも新規の薬価制度として提案されているような「企業側が薬価を提案し、それに対して説明責任を負う」スタイルであれば、提案価格を「A:現時点で定量化可能な部分」「B:擬似的定量化によって価格転換が可能な部分」の二つの要素と、A,Bで説明しきれない場合には「C:定性的な価値を質的に上乘せした部分」とに区分することになる。企業の提案価格が実証済みの価値(A,B)に比べて著しく高い場合や、A,Bそのものの不確実性が大きい場合などは、価格の説明可能性（あるいは透明性）が下がることになり、価格交渉時には不利な材料となる。

### まとめ

医薬品の価格付けについて、多面的な価値を考慮することの議論が活発化したことは望ましい変化である。しかし、価値の議論と費用対効果・医療技術評価の議論の混同や、定量化可能な部分のみに焦点があたることもまだ多い。具体例を用いた検討では、定量化部分だけでは十分に価値を反映できないケースも明らかになった。持続可能な医療システムの構築には、多様なステークホルダーを交えつつ、最適な価格設定法を定めていくことが重要である。

### 謝辞

本提言の執筆にあたっては、桜井なおみ氏（キャンサー・ソリューションズ株式会社 代表取締役社長）、佐藤主光氏（一橋大学大学院経済学研究科 教授）に研究協力者としてご助言を頂戴した。ここに感謝申し上げます。

## 日本医療政策機構「フェローによる政策提言プラットフォーム」について

日本医療政策機構（HGPI）は、非営利・独立の医療政策シンクタンクとして、市民や当事者主体の医療政策の実現をテーマに掲げ、2004年の設立以来、多様な政策提言を実施し、その実現を目指してきました。がん対策、女性の健康施策、認知症施策、薬剤耐性菌課題、医療技術評価のあり方などをはじめ、当機構の政策提言が一助となり議論が促進され、政策が進展した事例も数多く生まれています。

日本医療政策機構が政策提言を策定する際、重要視しているプロセスは、マルチステークホルダーかつグローバルな有識者による議論を通じた論点抽出です。産官学民のマルチステークホルダーがフラットに参集し、非公開を前提とした胸襟を開いた議論を重ね、政策領域の課題を洗い出し、論点を抽出し、解決の方向性を提示しています。さらに、グローバルな有識者も招いた専門家会合や公開シンポジウムなどを開催し、政策課題の国際的な共有や、広く社会への発信も進めているところです。

このような政策提言の策定プロセスは、マルチステークホルダー間のフラットな協議の場が限定的な我が国において有意義であり、政府関係者をはじめとした多くの関係者から関心と呼び、実現可能な政策提言の策定につながっていると考えております。一方で、マルチステークホルダーによる議論を通じた政策提言の策定は、度重なる議論の場の設定をはじめ、丁寧なプロセスが必要とされ、多くの時間を要することとなります。政策領域によっては、緊急を要するテーマや、必ずしもマルチステークホルダーの合意を前提としない個別具体的な提言にも価値があり、これまでのプロセスとは異なる政策提言の策定プロセスも希求されております。

そこで、日本医療政策機構では、当機構に所属するフェローをはじめとした関係者が、個別に政策提言を発表し推進できる「フェローによる政策提言プラットフォーム」プロジェクトを始動させました。フェローらが喫緊の課題とする政策提言の内容を、当機構内に設置する委員会で精査し承認し、当機構が発行する政策提言の一環とすることで、政策に関心を持つ市民に選択肢を提示し、創造性に富み実現可能な解決策を示してまいります。なお、発表内容は発表者の個人的見解であり、組織を代表するものではありません。

**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

グローバルビジネスハブ東京

TEL: 03-4243-7156 FAX: 03-4243-7378

Info: [info@hgpi.org](mailto:info@hgpi.org)

Website: <https://www.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: +81-3-4243-7156 FAX: +81-3-4243-7378

Info: [info@hgpi.org](mailto:info@hgpi.org)