

**Value (価値) に基づく医療技術評価へ
Value-oriented health technology assessment (HTA)**

木下麻子, 杉森裕樹

Asako Kinoshita, Hiroki Sugimori

大東文化大学 スポーツ・健康科学部 看護学科

Daito Bunka University,

Faculty of Sports & Health Science, Department of Nursing

抄 録

近年, 従来の安全性や有効性に主眼を置いた根拠に基づく医療 (EBM) に加え, 患者の QOL と Patient-reported outcome (PRO) の評価を活用した「価値に基づく医療 (VBM)」の考え方が着目されている. そこで, 本稿では医療技術評価 (HTA), QOL/PRO などについて整理した.

キーワード: 医療技術評価, 質調整生存年, 生活の質, 患者報告アウトカム

Keywords: Health Technology Assessment (HTA), Quality-adjusted life year (QALY), Quality of Life (QOL), Patient-reported outcome (PRO)

I. はじめに

昨今, 医療技術の進歩により, 生存年数の延長や生活の質の向上など多くのメリットがもたらされている. しかし, その一方で医療技術の進歩は医療費の増加に影響する. 公的医療保障制度を有するイギリスや, フランス, ドイツでは, 医療技術の経済評価 (費用対効果の評価) を独自で行い, カバーする技術や償還価格設定等に反映している. 我が国でも先進諸国に続いて, 2012年5月より中央社会保険医療協議会 (中医協) 費用対効果専門部会にて, 医療技術評価 (Health Technology Assessment: HTA) の政策応用への具体的な議論が始まった. そして2016年4月より, その試行的導入が始まっている. これまでの HTA

の中心は、安全性や有効性であったが、今後、費用対効果の分析結果も加味した具体的な判断基準を設けた HTA の実施が期待されている。

費用対効果の分析結果も加味した HTA を考慮するにあたって、価値に基づく医療 (Value-based medicine: VBM) の考え方が重要になってきている。VBM とは、従来の根拠に基づく医療 (Evidence-based medicine: EBM) に生活の質 (Quality of Life: QOL) を加味した考え方であり、効用 (Utility) を使用した価値 (Value) に変換される¹⁾。我が国において、HTA の導入には、費用対効果分析における、QOL と Patient-reported Outcome (PRO) の評価と活用が欠かせない。そこで、本稿では一つ一つの用語や考え方を整理した。

II. 医療技術評価 (HTA) とは

HTA とは、医療技術の開発、普及、および使用により生じる医学的、経済的、社会的、かつ倫理的意義を分析する学際的な政策研究分野である²⁾。鎌江³⁾によれば、HTA は学問分野の名称というより、安全・有効で患者の視点に基づく医療政策の策定についての情報を社会にもたらし、最善の価値を実現する政策や制度のありようを総称した用語として使用すると述べている。

HTA のプロセスは、大きく分けて『①Assessment 分析』『②Appraisal 総合的評価』『③Decision 意思決定』の3つからなる⁴⁾。この3つのプロセスのうち、①の『Assessment 分析』の中の「費用対効果評価」において、QOL と PRO の評価と活用が重要な因子となってくる。

費用対効果分析は、必要とされる費用に対して期待できる効果を比較する分析の一つである。従来は医療技術者側が評価しやすいアウトカム (臨床評価) 指標が採用されてきた。しかし、医療技術の急速の進歩に加え、患者主体の価値観も加味することが検討されるようになり、従来の根拠に基づく医療 (EBM) のみでなく、「価値」を加味した価値に基づく医療 (VBM) を使用した費用対効果分析が必要となってきている^{1) 3) 5)}。

Ⅲ. QOL と PRO について

QOL の概念は、1948 年、世界保健機関（WHO）の健康の定義に相当する。WHO の健康の定義は「...not merely the absence of disease, but physical, psychological and social well-being」すなわち日本では「…単に疾病がないという事ではなく、完全に身体的・心理的及び社会的に満足のいく状態にあること」という定義で示されている。さらに医療としての活動性、日常生活の役割などを加味する役割・機能面も構成要素となっている⁶⁾。WHO は 1998 年、従来の健康の定義に加え、「spiritual（霊的・宗教的・魂性）^{5) 6)}」を追加する改正案が提出されたが、実現には至っていない⁵⁾。特に HTA では、健康関連 QOL (Health-related QOL: HRQOL) という狭義に絞った概念領域を重要視しており、健康に関連しない QOL、生きがい、幸福人生の満足、spiritual な面を除いている⁷⁾。一方、PRO について、米国食品医薬品局（FDA）⁸⁾ は「医療従事者も含む患者以外の他者からの解釈を介さず、患者から直接得られた患者の健康状態に関する報告」とし、欧州医薬品庁（EMA）⁹⁾ は「患者自身により直接評価された、病気と治療についての患者の認識からの報告」としている。村澤ら⁵⁾ は、PRO は病気に関する捉えやすい部分的な健康感を扱うことが多い。一方、QOL は患者だけでなく、一般人の健康感を含み網羅的で深い健康の捉え方をすると述べている。HTA 導入にあたって、PRO は患者自身より報告される臨床的評価のエンドポイントとして、QOL を代替し、今日においては症状、機能、満足感、HRQOL を包含する用語として使用されている^{10) 11)}。

Ⅳ. HTA における PRO と QOL の重要性

HTA の費用対効果を分析する際、質調整生存年（Quality adjusted life year: QALY）の考え方が重要である。HTA の方法には、(a)「費用最小化分析（Cost-minimization analysis : CMA）」、(b)「費用効果分析（Cost-effectiveness analysis : CEA）」、(c)「費用効用分析（Cost-utility analysis : CUA）」、(d)「費用便益分析（Cost-benefit analysis : CBA）」の 4 つの方法があり、生存年を質で重みづけした QALY を用いた CUA が多くの国の HTA で使われている。Drummond¹²⁾らは、

経済評価にて、様々な病気を同じ土台で比較するために、「生命予後」と「生活の質」の双方への評価ができる QALY を使用するのが最も効果的であると述べている。QALY とは、「生存年 (Life Year: LY) を、1 点満点の QOL 値で重み付けしたもの」で、この QOL 値が、QOL/PRO の概念を代表する「効用値 (Utility Score)」として測定される。この効用値は、死亡を 0、完全な健康を 1 とする尺度で表される。2016 年より開始された我が国の HTA の試行的導入のガイドライン¹³⁾にて、「効果指標の選択として、QALY を基本とし、QALY を算出する際の QOL 値は、一般の人々の価値を反映できる方法 (EQ-5D, SF-6D, HUI 等の質問法, 基準的賭け法, 時間得失法) を用いる」としている。QOL 値の評価尺度には①包括的 (汎用的) 尺度と②疾病特異的尺度があり、特定の疾病でない限り、広義の QOL 値の算出が可能な①を使用する。

V. 実際の HTA の先行研究

HTA の指標として、Value に基づく QOL を重視した費用対効果分析の例を紹介する (表 1)。

表の内容からも分かるように、様々な疾患、症状への治療法に対して、包括的な尺度 (EQ-5D, SF-6D など) を使用し QALY を算出することで、費用対効果分析を行っていることが分かる。

表1 実際のHTA活用のための先行研究 (Utility Scoreを使用しQALY算出しているものを抽出)

Author, Year, Country	Study design	Condition	Patient Sample	Results	Study Duration
Heller S et al.,2017 A cluster randomised trial, cost-effectiveness analysis and psychosocial evaluation of insulin pump therapy compared with multiple injections during flexible intensive insulin therapy for type 1 diabetes: the REPOSE Trial., United Kingdom	盲検化ありRCT; インスリン補充療法にて複数回の注射とポンプ療法との比較 HRQOL; SF-6D	1型糖尿病に罹患して12か月以上の成人 集中的なインスリン療法を行つ意思がある、またはポンプの臨床適応がある	対象者317人 46のコースを作成	MDI + DAFNEの集団が高コストでよりQALYが少ない このシナリオでのICER: 552866 £であり、NICEの費用対効果の基準を超え、費用対効果が高いとは言い難い	2年間
Brittenden J et al.,2015 Clinical effectiveness and cost-effectiveness of foam sclerotherapy, endovenous laser ablation and surgery for varicose veins: results from the Comparison of Laser, Surgery and foam Sclerotherapy (CLASS) randomised controlled trial. United Kingdom	盲検化なしRCT; 静脈瘤の治療法である ①Foam sclerotherapy (foam) ②endovenous laser ablation (EVLA) ③surgeryの比較研究 HRQOL; EQ-5D	原発性の静脈瘤患者	対象者708人 (foam, n = 292; surgery, n = 294; EVLA, n = 212).	EVLAは1 QALYを得るのに、26107 £かかる 6週間のEQ-5DはfoamよりEVLAが大きい (p=0.004) 合併症 EVLA(1%), Foam(7%), Surgery(8%) 6か月の臨床結果、5年間の費用対効果を考慮するとEVLAが最適	治療: 6か月 費用対効果: 5年間
Ridsdale L et al.,2018 Self-Management education for adults with poorly controlled epilepsy [SMILE (UK)]: a randomised controlled trial. London and south-east England	盲検化なしRCT; 通常の治療 (TAU) に沿った自己管理グループとTAUのみのグループの比較 HRQOL; EQ-5D-5L	過去1年間にてんかん発作を2回起こし、現在抗てんかん薬の処方を受けている16歳以上の成人	対象者 404人 平均年齢41.7歳 (SD) SD14.1歳	IQALY ICER;5548 £ 社会的観点からの対応するICER;88082 £ (介入で80 £削減)	12か月
Gupta JK et al.,2015 A randomised controlled trial of the clinical effectiveness and cost-effectiveness of the levonorgestrel-releasing intrauterine system (LNG-IUS) (Mirena®, Bayer) (2)通常治療 (tranexamic acid, mefenamic acid, combined oestrogen/progestogen or progesterone alone) の比較 United Kingdom	RCT; ①levonorgestrel-releasing intrauterine system (LNG-IUS) (Mirena®, Bayer) ②通常治療 (tranexamic acid, mefenamic acid, combined oestrogen/progestogen or progesterone alone) の比較 HRQOL; EQ-5D SF-6D	重度の月経出血 (HMB)	対象者571人 LNG-IUS285人 通常治療286人	2年の追跡 EQ-5Dでは、通常治療よりLNG-IUSの方が相対的な費用対効果はQALY1600 £であったが、5年の追跡で114 £へ削減された 反対に、SF-6Dでは通常治療の方がLNG-IUSより、コストが削減された Utility Scoreの尺度で結果が異なる	2年間 追跡 5年間

VI. 終わりに

WHO の報告では、2010 年の世界の保健医療に関する年間支出は、約 5 兆 3000 億米ドルとなっている。2013 年、経済協力開発機構（OECD）では、精神疾患を含めた非感染性疾患（NCDs）の増大する重い負担、高齢化社会、高額な治療や技術の革新及び増加するクライアントの需要により、世界中で医療費が高騰していると報告している。我が国も例にもれず、医療費が高騰している。2018 年の一般会計歳出の約 33% は社会保障であり、その内訳の約 35% が医療費と年々増加傾向にある現状がある¹⁴⁾。イギリスでは、医薬品を含む医療技術の評価に費用対効果評価を導入し、HTA 機関である NICE (National Institute for Health and Care Excellence) が標準的治療や処方提言するガイダンスを発行している。アジアでも、日本、韓国、台湾、タイ、マレーシア、中国が政府レベルでの費用対効果評価の評価ガイドラインを策定している¹⁵⁾。更に、看護分野でも 2015 年、国際看護師の日（International Nurses Day : IND）に『看護師：変革の力—高いケア効果および費用対効果』というテーマにて、世界中の保健医療制度の強化及び改善するための行動に対する国際看護師協会（International Council of Nurses : ICN）の強い決意を示している¹⁶⁾。看護師は、保健医療従事者の中で最大の構成員として、質の高いケアを提供し、最善の患者アウトカムをもたらす、できるだけ少ないコストで大きな効果を上げられる立場にある。そのため、医療財政、予算、資源配分及び戦略計画を適切に理解する事が必須となってきている。

今後、ますます膨大に膨れ上がると予想される医療費に対し、高い質（Quality）や価値（Value）を担保しつつ、費用適正化を目指すことが大切である。そのためにも、ガイドラインを活用し、より多くの情報収集を行い、慎重な費用対効果分析結果による HTA が行われることが期待される。

文献

- 1) Brown, GC. Brown, MM. Sharma, S. (2003) : Value-based medicine : evidence-based medicine and beyond, *Ocul Immunol Inflamm* : 11 (3), p157-70
- 2) The International Network of Agencies for Health Technology Assessment
www.inahta.org/ (閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)
- 3) 鎌江伊三夫 (2016) : I章 知っておきたい基礎知識. 鎌江伊三夫編, 医療技術評価ワークブック 臨床・政策・ビジネスへの応用, じほう, p1-22
- 4) 福田敬 (2017) : 医薬品・医療機器の費用対効果評価の試行的導入, 保健医療科学, 166 (1), p34-40
- 5) 村澤秀樹, 下妻晃二郎 (2018) : 医療技術評価における QOL/PRO の活用, 薬剤疫学, *Jpn J Pharmacoepidemiol*, 23 (1), p19-27
- 6) 土井由利子 (2004) : 総論—QOL の概念と QOL 研究の重要性, *J. Natl. Inst. Public Health*, 53 (3), p176-180
- 7) 池上直巳, 福原俊一, 下妻晃二郎 他編 (2001) : 臨床のための QOL 評価ハンドブック, 医学書院
- 8) Patient-Reported Outcome Measures: Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims Guidance for Industry DECEMBER 2009
www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-reported-outcome-measures-use-medical-product-development-support-labeling-claims (閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)
- 9) Committee for Medicinal Products for Human Use, European Medicines Agency. Reflection paper on the regulatory guidance for the use of healthrelated quality of life (HRQL) measures in the evaluation of medicinal products. 2005,
www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-regulatory-guidance-use-healthrelated-quality-life-hrql-measures-evaluation_en.pdf (閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)
- 10) 下妻晃二郎 (2015) : QOL 評価研究の歴史と展望, 行動医学研究 , 21 (1), p4-7

- 11) Brettschneider, C. Lühmann, D. Raspe, H. (2011) : Informative value of patient reported outcomes (PRO) in health technology assessment (HTA), GMS Health Technol Assess, 7
- 12) Drummond, MF. Sculpher, MJ. Claxton, K. et al. (2015) : Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes 4th ed, Oxford University Press
- 13) 中央社会保険医療協議会 : 中央社会保険医療協議会における費用対効果評価の分析ガイドライン 2016 年 1 月作成
www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12404000-Hokenkyoku-Iryouka/0000104722.pdf
(閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)
- 14) 財務省 : 社会保障について 平成 30 年 10 月 9 日 (火)
www.mof.go.jp/about_mof/councils/fiscal_system_council/sub-of_fiscal_system/proceedings/material/zaiseia301009/01.pdf (閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)
- 15) 医薬品のかちの科学的な評価—データサイエンス担当者のための費用対効果評価の現状と手法の解説—Ver.2 2016 年 4 月
www.jpma.or.jp/medicine/shinyaku/tiken/allotment/pdf/2014ds_tf3.pdf
- 16) 国際看護師協会 : 看護師 : 変革の力 高いケア効果および費用対効果
www.nurse.or.jp/nursing/international/icn/katsudo/pdf/2015.pdf (閲覧日 : 2020 年 1 月 15 日)