

調査検討報告書

**医療の持続的発展に向けた戦略的な医療技術評価
(Health Technology Assessment) の推進**



エグゼクティブサマリー

本報告書「医療の持続的発展に向けた戦略的な医療技術評価（Health Technology Assessment）の推進」は、医療の非効率性、医療産業の低迷、社会医療保障費の増大など、多くの先進諸国・地域で見られる医療の現状を背景に、わが国では未だ取り組みが十分でない医療技術評価の現状調査と、より有用性（effectiveness）の高い医療技術の開発や選択、普及、十分な利活用に向けた評価のあり方についての検討結果をとりまとめたものである（図1）。

限りある医療資源（医療費、医療従事者、医療インフラなど）を効率的に配分、活用することで医療システム全体の効果や持続性を向上させ、同時により良い医療技術の創出と、その普及による社会への貢献ならびに成長を推進することは、わが国を始め、成熟した超高齢社会へと突入しつつある多くの国や地域において喫緊の課題である。そのためには、高度化、多様化を続ける医療技術で大規模なデータや科学的な根拠に基づいて評価し、その利活用のあり方に関して合理的な意思決定を促すことが重要である。

本報告書では、医療技術評価の目標を、より有用性の高い医療技術が選択され、臨床現場において広くかつ十分に利活用されるようにするとともに、そうした技術の開発が一層推進されること、とした。これらが達成されることで、広く国民の生活の質や種々の生産性が向上するだけでなく、医療産業におけるわが国の国際競争力の強化や国際貢献、さらには国家の成長と医療システムの持続性改善が可能となると期待できる。

<医療技術評価とは>

【定義】

臨床判断や政策立案などにおける意思決定の一助とするために、国民の健康生活の充実に資する医療技術を、医学的、社会的、倫理的、経済的観点などから総合的に検証・評価・比較すること。

【医療技術の範囲】

本報告書では「健康の増進や疾病の予防・診断・治療などに用いられる新規および既存の医薬品や医療機器、再生医療や個別化医療、個別化予防などの先端医療技術や医療サービス、医療情報インフラ（電子カルテなど）、医療システムなど」とした。

医療技術の進歩、発展は人類の健康生活の充実に大きく寄与してきた。その一方で、わが国を含む多くの先進諸国・地域では、医療技術の高度化などにより医療費を含む社会負担が増大した。また、医学研究が複雑さを増すなかでイノベーションの創出は一層困難となっており、研究開発に対するインセンティブ付与のあり方について改善が望まれている。

これらの問題を解決するため、医療技術の有用性を大規模な実測データや科学的根拠に基づいて検証・評価・比較するとともに、その結果の医療政策や科学技術政策への反映や、臨床現場への普及を進める施策作りなどへの活用が世界で進められている。例えばイギリス、アメリカ、オーストラリア、韓国などの国々では、1990年以降に医療技術評価実施機関が次々と設立され、医療技術評価結果の医療政策決定プロセスへの組み込みなど、活用が進められてきた。

わが国では医療技術評価の重要性は以前から指摘され、特に経済的観点からの評価については議論が重ねられてきた。しかし、現状では総合的な医療技術評価の実施や、評価結果の社会への反映、普及（科学的根拠に基づいた政策決定、臨床現場での利活用など）はいずれも十分には行なわれていない。またわが国では、医療技術評価を実施する組織や人材の不足、医療情報インフラの未整備、ステークホルダー間のコミュニケーション不足といった問題もある。

今後はわが国でも医療技術評価の一層の充実が求められる。これを戦略的に進めるため、考慮されるべき機能として以下の4つが考えられる。

① **全体統括機能（司令塔機能）**

評価の要否判断と実施に際しての優先順位付け、評価開始時点での全体計画立案・調整、評価結果の最終とりまとめ、政府当局や関連学会への助言（実質的な方針提示）、評価結果の社会への普及などを行う。

② **調査分析機能**

「①全体統括機能」が定める評価実施対象ならびに全体計画に従って安全性、有効性、経済性、社会性、倫理性などに関する調査・分析を行う。

③ **評価フォローアップ機能**

医療技術評価結果の社会への普及状況の継続的なモニタリング、評価結果の妥当性に関する定期的な分析・検証、そして改善に向けたフィードバック（再評価の提案など）などを行う。

④ **基礎・基盤研究機能**

評価手法に関する研究（健康アウトカム指標、評価モデリング研究、臨床経済学的分析など）や、評価を支える基盤的な研究（大規模医療情報の収集・解析インフラの整備、それを活用した臨床研究など）を行う。

また、上記4つの機能は、医療技術評価に関連する多様なステークホルダー（医療サービスの利用側と提供側、医療費負担側、研究開発側、行政機関など）、ネットワーク（人、組織、情報など）、専門性（医療専門職、研究職など）により支えられる。

以上をふまえ、医療技術評価の充実に向けた目下喫緊の課題は、政府主導・府省連携による検討（司令塔機能構築）、ステークホルダー間の連携体制の強化、臨床情報の収集とさらなる利活用、そして専門人材の確保と育成などであると考えられる。ただしその際には、わが国の社会的、文化的背景や特性、ならびに既存あるいは新規医療技術へのアクセシビリティ確保の観点にも同時に留意する必要がある。

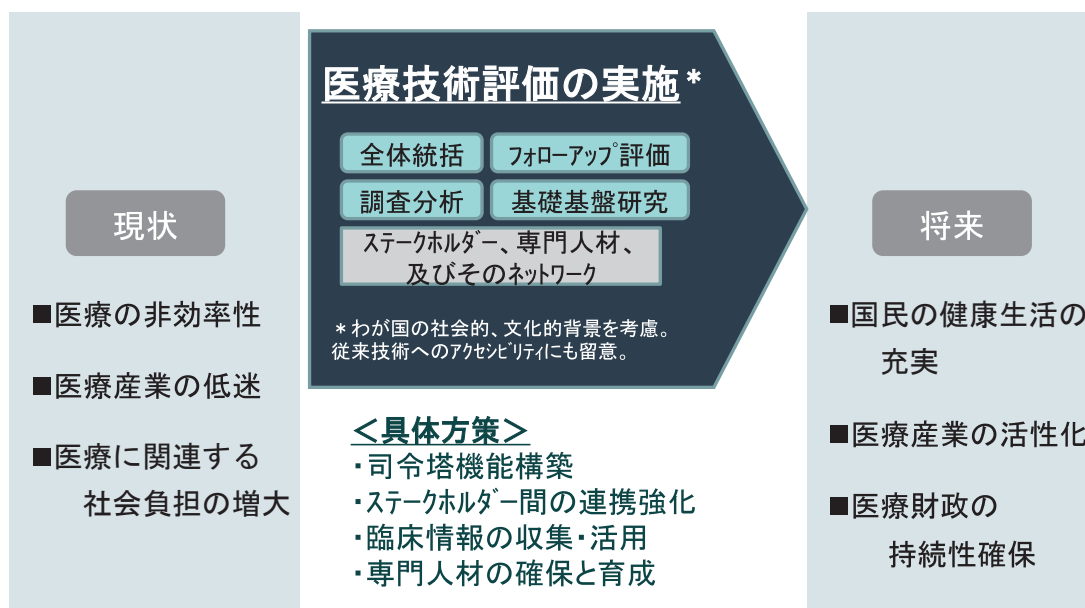


図1. 医療技術評価の位置づけと、具体方策案

目 次

エグゼクティブサマリー

1. 医療技術評価とは	1
1－1：背景	1
1－2：定義	4
1－3：科学技術政策上の位置付け	5
1－4：期待される役割	5
2. 医療技術評価の実施に向けて解決すべき点	7
2－1：実施基盤	7
2－2：方法論	8
2－3：社会への働きかけ	10
3. わが国における医療技術評価の充実に向けた提案	11
3－1：提案	11
3－2：医療技術評価の戦略的实施に必要な機能	11
3－3：医療技術評価を支える人材、ネットワーク	18
3－4：具体的な方策	19
参考：各国の事例	21
①：イギリス	21
②：アメリカ	23
主要な参考文献	25

1. 医療技術評価とは

1-1：背景

<医療技術を取りまく現状>

ライフサイエンス研究の進展に伴って、医療技術は高度化、多様化を続けている。従来の医薬品、医療機器に加えて分子標的薬、個別化医療（オーダーメイド医療・ゲノム医療）・個別化予防、再生医療といった新たな医療技術も開発されている。多くの国では、これら医療技術は安全性・有効性の検証を行なったのち医療として承認され、公的あるいは民間の医療保険制度などに組み込まれて国民に還元されるというプロセスを経る。わが国でも、公的な健康保険制度に収載された医療技術については誰もがその恩恵を享受できる。

ところが現在、社会へ還元される段階にまで至った医療技術が、必ずしも臨床現場でその有用性が示されていない場合があるとの指摘がある。アメリカ医学研究所（Institute of Medicine；IOM）の推定によれば、アメリカの医療機関で提供されている医療技術の約半数は、その有用性（Effectiveness）が臨床現場で十分証明されていないと報告されている¹。また、安全性・有効性が示されていても、その効果的な活用のための診療ガイドラインなどが十分に整備されておらず、臨床現場への普及活用が徹底されていない場合もある²。こうした事例は、臨床研究で示された安全性・有効性のエビデンス（Clinical Validity）と実臨床（実際の社会）における実効性（Clinical Utility）に差があることを示唆している。

また、近年は医療技術の開発コストが高騰している。それらは価格に反映されるため、結果として先進諸国を中心に世界各国で医療費負担の増大が起きている。それにも関わらず医療技術の革新性を評価する手法や、その評価結果の反映方法（例えば価格設定や市場における保護の仕組みなどへの反映）の開発が不十分であるということもあり、現状では医療技術の健全な新陳代謝（より良い医療技術との入れ替わり）が促されていないとの指摘もある³。医療財政の持続性確保という観点からは、医療政策上も産業政策上も、以上のように技術開発に伴う医療費負担の増加をどのように正当化し、また分担するかが深刻な問題となっている。

<海外における医療技術の評価とその活用状況>

以上の現状を踏まえ、多くの国々では、高度化、多様化する様々な医療技術を有用性の面から適切に評価し、合理的な判断に基づいて選択した上で社会へ普及させようという取り組みを始めている。具体的には、新旧様々な医療技術を、健康上のアウトカムを主たる指標として、医学的、社会的、倫理的、経済的観点などから総合的に検証・評価・比較する「医療技術評価」の整備、実施と、評価結果の医療政策への活用が進んでいる。

イギリスで1999年に設立されたNICE（The National Institute for Health and Clinical Excellence）では、主に新規医療技術の保険収載の是非に関する検証が行なわ

1 Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research（The Institute of Medicine, June 30, 2009）
（<http://www.iom.edu/Reports/2009/ComparativeEffectivenessResearchPriorities.aspx>）

2 Elizabeth A. McGlynn et al. 2003：The Quality of Health Care Delivered to Adults in the United States（N Engl J Med 2003；348:2635-2645）（<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMsa022615>）

3 「国内医薬品市場の将来予測と新薬創出への影響－新薬アクセス要因としての市場特性」（2008年7月、日本製薬工業協会医薬産業政策研究所 政策研ニュース No25）（<http://www.jpma.or.jp/opir/news/news-25.pdf>）

れており、公的保険である NHS（National Health Service）における保険収載の推奨有無がガイダンスとして公表されている。アメリカでは、1999 年に AHRQ（Agency for Healthcare Research and Quality）が設立され、これまで主に民間の保険会社で行なわれていた医療技術評価が、国としても実施されることになった。また、2010 年にはオバマ大統領のヘルスケア改革の一環として医療技術評価が重視され、効果比較研究（Comparative Effectiveness Research ; CER）の推進や PCORI（Patient-centered Outcome Research Institute）という NPO 法人の設置が進められた。PCORI では、AHRQ の協力のもと、医療技術のリスク・ベネフィットの比較研究などが行なわれる予定である。オーストラリアでは 1990 年以降、公的医療保険の薬剤給付制度である PBS（Pharmaceutical Benefit Scheme）へ新規医薬品を収載する際に医療経済評価を行なっている。韓国では、2000 年に同国の健康保険関連情報の総括組織である HIRA（Health Information Review Agency）内部に医療技術評価を実施する組織が設立され、取り組みが既に始まっている。2008 年には NECA（National Evidence-based healthcare Collaborating Agency）も設立され、政府や学会の委託を受けて医療技術評価を行なっている。その他、オランダ、スウェーデン、タイ、ドイツなどにも医療技術評価を実施する組織があり、評価結果は医療技術の保険収載の決定などに活用されている⁴。

また、医療技術評価の国際ネットワークの活動も活発である。例えば、INAHTA（International Network of Agencies for Health Technology Assessment）⁵ や ISPOR（International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research）⁶、HTAi（Health Technology Assessment International）⁷ などの組織に、各国の医療技術評価実施機関や関係機関などが参加し、情報交換や評価の方法論、その標準化などに関する活発な議論を行なっている。

このように、医療技術評価は世界各国で取り組まれているだけでなく、国際的な活動としても活発化している。国によって、評価結果の医療政策への反映方法や、評価尺度であるアウトカム指標の考え方などに違いはあるが、いずれにおいても、限りある医療資源（医療費、医療従事者、医療インフラなど）の効果的・効率的な活用や、医療の質の向上、研究開発の促進、医療財政の持続性確保などが目標となっている。

<わが国における医療技術評価>

わが国では、医療に関連した社会負担が増大を続け、高齢化の進展がその傾向に拍車をかけている。厚生労働省の試算（2010 年 10 月時点）⁸によると、国民医療費の総額は 2010 年度に 37.5 兆円で、2025 年には 52.3 兆円になると予想されている。また、医療技術を医学的、社会的、倫理的、経済的な側面などから包括的に評価を行なう医療技術評価の重要性はこれまでに何度も指摘されており、とりわけ医療経済評価についての議論が積み重ねられてきている⁹。

4 各国の医療技術評価への取り組み状況の詳細については、「医療経済評価研究の政策への応用に関する予備的研究 報告書」（平成 23 年 6 月、医療経済研究機構、分担研究代表者：福田敬）を参照（<http://www.ihep.jp/publications/report/search.php?y=2010>）

5 INA-HTA ホームページ（<http://www.inahta.net/>）

6 ISPOR ホームページ（<http://www.ispor.org/>）

7 HTAi ホームページ（<http://www.htai.org/>）

8 第 11 回高齢者医療制度改革会議資料（2010 年 10 月 25 日、厚生労働省）（<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000000uhlp.html>）

9 医療技術評価の在り方に関する検討会報告について（平成 9 年 6 月 27 日、厚生労働省 HP）（http://www.1.mhlw.go.jp/houdou/1103/h0323-1_10.html）、ほか

独立行政法人科学技術振興機構 研究開発戦略センター

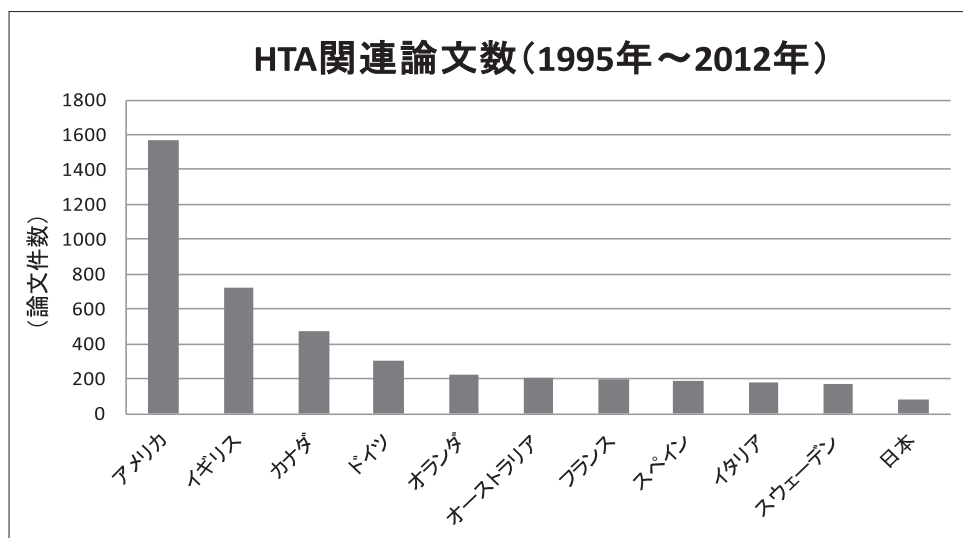


図3. 医療技術評価（HTA）に関する論文数の国際比較
 (Web of Knowledge SM 検索データをもとにCRDSで作成¹⁰⁾)

1-2：定義

本報告書では、国内外の各種声明や学会報告をもとに、医療技術評価を「臨床判断や政策立案などにおける意思決定の一助とするために、国民の健康生活の充実に資する医療技術を、医学的、社会的、倫理的、経済的観点などから総合的に検証・評価・比較すること」と定義した^{11,12)}。

医学的な側面の評価には、いわゆる臨床研究、治験で行なわれている医療技術の開発段階での安全性・有効性評価や、実際の臨床現場から得られるデータをもとにした臨床上の実効性の調査、比較検証が該当する。社会的、倫理的な側面の評価には、医療技術への国民全体のアクセシビリティ、公衆衛生の向上へ与えるインパクトの大きさのほか、希少疾患や治療法の開発が不十分な疾患に対応する技術の評価、生命倫理や死生観に基づいた技術の評価が該当する。経済的な側面の評価には、技術の費用対効果や医療財政の持続性を考慮した医療資源（医療費、医療従事者、医療インフラなど）の最適な配分や、活用方法に関する評価が該当する。

対象となる医療技術の範囲は、医療技術評価の政策的な位置付けに応じて国ごとに異なっている。対象範囲によっては新規技術開発の方向性にも一定の影響を及ぼしうるのであると考えられる。本報告書では、評価の対象となる医療技術を「健康の増進や疾病の予防・診断・治療などに用いられる新規および既存の医薬品や医療機器、再生医療や個別

10 Web of Knowledge 【検索条件：“タイムスパン＝1995-2012年”、“キーワード＝Health Technology Assessment, HTA, Health Economic”】(<http://apps.webofknowledge.com>)

11 国際的な定義：「Technology assessment in health care is a multidisciplinary field of policy analysis. It studies the medical, social, ethical, and economic implications of development, diffusion, and use of health technology」(INA-HTA ホームページ) (<http://inahta.episerverhotell.net/HTA/>)

12 国内の定義：「個人や集団の健康増進、疾病予防、検査、治療、リハビリテーション及び長期療養の改善のための保健医療技術の普及と利用の意思決定支援を目的として行うものであり、当該医療技術を適用した場合の効果・影響について、特に健康結果を中心とした医学的な側面、経済的な側面及び社会的側面から、総合的かつ包括的に評価する活動」（「医療技術評価の在り方に関する検討会報告書」について（平成9年6月27日、厚生省）(<http://www1.mhlw.go.jp/houdou/0906/h0627-6.html>)

化医療、個別化予防などの先端医療技術や医療サービス、医療情報インフラ（電子カルテなど）、医療システムなど」と定義付けた。

多くの国は主に新規医薬品を対象とし、それらを公的負担でどこまで賄うかを判断する際の材料にしている。これは、新規の医療技術は既存のものとは比べて高額なケースが多く、政策への影響度が大きいことが主な理由と考えられる。しかし、臨床現場における医療技術の活用状況を念頭に置けば、医薬品や医療機器といった、技術単独の評価にとどまらず、それらを用いたパッケージとしての医療サービスやその支援技術（情報インフラなど）も評価対象となって然るべきである。実際にイギリスでは、医薬品に限らずチーム医療なども評価の対象としている。また、新旧医療技術の比較評価によって、安価で使用実績も十分な既存技術を再評価したり、これまでわが国の公的保険ではカバーされてこなかったが重要である予防的、先制医療¹³的な医療技術の評価対象としたりすることで、今後の新規技術開発の方向性にも一定の影響を及ぼすことが予想され、これらも評価対象として重要である。さらに、医療資源の配分の視点からは、人材や資金を含めた医療システムの在り方も評価対象とするべきである。こうした各国の事情ほかを考慮して、本報告書では上記の定義とした。

1-3：科学技術政策上の位置付け

第4期科学技術基本計画（平成23年8月19日閣議決定）¹⁴では「国は、「科学技術イノベーション政策のための科学」を推進し、客観的根拠（エビデンス）に基づく政策の企画立案、その評価及び検証結果の政策への反映を進めるとともに、政策の前提条件を評価し、それを政策の企画立案等に反映するプロセスを確立¹⁵」と述べられており、医療政策の企画立案、評価、検証に資する取り組みである医療技術評価は同計画の趣旨に合致している。

また、平成24年度科学技術重要施策アクションプラン（平成23年7月21日、科学技術政策担当大臣、総合科学技術会議有識者議員）¹⁶では、ライフイノベーションにおける重点的取り組みの目標に「大規模ゲノムコホート推進体制の完成、コホート研究によるバイオマーカー及びそれに基づく早期医療介入（診断・予測・治療）の開発と安全性・有効性・経済性の評価、臨床情報活用からの医療技術評価による効果的医療の普及及び推進」と、医療技術評価が明記されている。

こうした例より、医療技術評価の必要性はわが国の科学技術政策上も明らかである。現在ではむしろその整備や実施に向けた具体的な戦略立案が望まれる段階にあると考えられる。

1-4：期待される役割

医療技術評価に期待する役割は、わが国において、より良い医療技術が適切に社会へ普及し、研究開発と社会還元をつなぐサイクルが持続的に回る原動力となることである。技

13 先制医療・・・疾患の発症前に科学的根拠に基づいて治療介入し、発症を遅らせるか防止する医療。戦略イニシアティブ「超高齢社会における先制医療」（JST-CRDS、平成23年3月）を参照。（<http://crds.jst.go.jp/output/pdf/10sp09.pdf>）

14 （<http://www8.cao.go.jp/cstp/kihonkeikaku/4honbun.pdf>）

15 レギュラトリーサイエンス：科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行ない、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学

16 （<http://www8.cao.go.jp/cstp/siryu/haihu98/siryu3-2.pdf>）

術の適正な評価によって、より有用性・実効性の高い医療技術が臨床現場で効果的・効率的に利活用できるようになり、加えて評価結果から新たなアンメットメディカルニーズが抽出され、さらなる研究開発課題へとつながる。優れた医療技術・医療サービスが臨床現場で広くかつ適切に国民に提供され、健康寿命の延伸、生活の質の向上につながる（国民の健康生活の充実）。加えて、評価結果から新たなアンメットメディカルニーズ（充足されない医療ニーズ）が抽出されて研究開発課題へとつながり、医療産業がそうした社会ニーズをいち早くとらえられることで、わが国の産業の国際競争力の強化とさらなる国際貢献を可能にする（医療産業の活性化）。さらに、健康の向上や生産性の改善に伴う国家の成長や、医療資源の効果的・効率的な活用による医療システムの持続性改善へとつながる（医療財政の持続性確保）。

こうした役割の実現にはまず、医療技術評価によって、より効果的な医療技術の選択やその最適な組み合わせ、あるいはその効率的な活用方法を評価し、より多くの医療現場で広く実施されることで、国民の健康生活の充実につながると考えられる。その際、新旧様々な医療技術に対して、健康上のアウトカムを中心とした長期的な評価を継続して実施することが必要になる。ただし、選択される可能性のある医療技術やサービスは常に単一とは限らないので、医療資源（医療インフラ、医療従事者、医療費など）の配分の優先順位付けを検討するとともに、医療従事者や患者の意思決定支援に向けた診断・治療ガイドラインの作成などにも必要になる。

医療は継続的な研究開発の上に成り立っているため、医療技術評価の対象や評価指標の明確化は、将来的な研究開発の方向性に一定の影響を及ぼすことが予想される。このため、医療技術評価にあたっては医療産業の活性化も観点として含める必要がある。医療技術評価で重視する視点（例えば健康上のアウトカム）や、評価結果の反映方法（例えば価格設定や市場における保護の仕組みなど）を明確にし、後述するような産業界との連携を確立することで、医療技術評価による産業活性化も目指す。

医療財政の持続性確保という観点も重要である。医療技術評価を適切に実施する際に、その財政上のインパクトを評価し、結果を周知することで、医療資源の配分をより適切かつ戦略的なものとする。これにより、わが国の健康保険制度を将来にわたって持続可能なものとし、全国民がより効果的・効率的な医療の恩恵を長く享受できるようにするという観点である。

以上のように、医療技術評価によって国民の健康生活の充実、医療産業の活性化、医療財政の持続性確保というサイクルを回すためには、評価の実施のみならず、その結果を戦略的に社会へと反映・普及（科学的根拠に基づいた政策決定、臨床現場での利活用など）させることが不可欠である。それを通して、技術的な改善（より効果的な医療技術の開発とその効率的な活用など）と、制度的な改善（新たな医療提供の推進（発症後治療から先制的な介入）、包括的な医療システムの再構築など）の双方を促し、これらが連携して医療を刷新していく必要がある。

2. 医療技術評価の実施に向けて解決すべき点

医療技術評価は、発展途上にある政策上のトピックであり、学術的な研究分野である。従ってその実施においては、医療技術評価本来の定義に照らしても多くの問題が未だ存在している。本章ではわが国に着目して医療技術評価に係る問題点を示すが、世界でも概ね同様の問題がある。

2-1. 実施基盤

（1）人材の不足

わが国の人材の不足は多くの研究分野で指摘されているが、とりわけ医療技術評価の研究者は欧米と比して少ない。原因としては、これまで医療技術評価を医療政策の決定や臨床現場などでの意思決定に活用しようという動きが少なく、結果として研究成果の活用が極めて限定的で、研究業績が他の研究分野と比較して認知されにくかったことなどが考えられる。また、医療技術評価の重要性や、実施に必要なスキル（統計学、疫学、薬学、経済学など）、考え方（生命倫理など）などを教育する場の整備が十分に進んでいないことも一因と考えられる。さらに言えば、医療技術評価を実施する際は、医学、社会、倫理、経済などの専門的知見を結集させる必要があるが、それら専門家間ですらそうした連携を行う素地が整備されていないのが現状である。

（2）医療情報インフラの未整備

医療技術評価では、大規模な実測データや科学的根拠に基づいて特定の医療技術を他の医療技術と比較し、その有用性などを検証・評価する。このため、疫学データ、特に医療のアウトカムとコストに関するデータ収集は医療技術評価の実施の前提となる。これらアウトカムやコストに関するデータは、いわゆる民族差のような生物学的な特性の違い、その国特有の社会的背景（制度面、インフラ面、経済面）や文化的背景（医療に期待される役割、死生観、生命倫理）などを考慮する必要があるため、海外データの転用は必ずしも適切ではない場合がある。

一方わが国では、例えば国民皆保険制度の下、レセプトデータの作成・収集が標準化されているという強みがあるため、その既存の医療情報およびインフラを適切に活用しつつ、新たに医療技術評価に適したデータ収集を進めることが可能な状況にある。現状ではそのような取り組みは一部でようやく始まったという段階であり、のちの医療技術評価に活用可能なデータベースの整備も未だ進んでいない。

（3）全体戦略とその実施体制の欠如

国として効果的・効率的に医療技術評価を推進するためには、わが国全体の医療の現状を広く見渡し、社会制度や経済力、医療ニーズ、医療インフラなどに合わせて長期的な視野を持って計画を策定することが重要になる。また、その計画を実際に実行へと移すためには、周囲との調整を図りつつ主体的かつ戦略的に取り組む体制も必要になる。現状においてわが国は、こうした全体戦略と実施体制の整備を担う組織がなく、医療技術評価とその結果の社会への導入に向けた取り組みは諸外国と比べて遅れている。

2-2. 方法論

（1）評価実施対象の絞り込み

医療技術評価の実施対象は、評価の政策的な位置づけにもよるが、社会にもたらされるインパクトや評価自体に係るコストを考慮して決定される必要がある。従って、国によって違いがあるが、例えばスウェーデンでは全ての医薬品を医療技術評価の対象としている。オランダ、スウェーデン、オーストラリア、カナダ、韓国などは主に新規医薬品を対象としている。イギリスはチーム医療（例：うつ病に対するチーム医療、在宅医療における薬剤師の役割など）も対象としている。評価の位置付けによっては、医療情報インフラなどの ICT 関連技術が医療の効率性と関連づけて対象とされることもありうる。わが国では、一部の医薬品について経済性の観点から評価が行なわれているが、医療技術評価全体の政策的な位置付けは必ずしも明確でない。

また、評価の対象は技術の進歩によっても変わりうる。例えば、再生医療や遺伝子治療などは医療技術としてまだ完全には確立していないものの、いずれ評価の対象となると予想される。また、遺伝子や画像を用いた診断技術も、健康アウトカムに対して間接的だが大きく影響を及ぼす点で、今後重要な評価対象となりうる。実際、アメリカなどでは診断技術に対する技術評価のガイドライン作りが進行している。また昨今、予防的、あるいは“先制医療¹⁷⁾”的な医療の重要性の認識が広まりつつある。例えば、感染症対策（ワクチン）や肥満対策など、既に医療技術として活用されているものも一部にはあるが、従来、わが国の健康保険制度の枠組みではこういった分野はカバーされてこなかった。これら予防的、あるいは先制医療的な医療技術についても、将来的には医療技術評価の対象にすべきと考えられる。

（2）評価手法・指標の選定

健康アウトカムを評価する際には、社会的背景（制度面、インフラ面、財政面など）や文化的背景（医療が期待される役割、死生観、生命倫理など）を考慮に入れた手法や指標を用いることが、医療技術評価を実施するあらゆる国で重視されている。このため、単一の評価指標ではなく、多面的、多層的な指標を設定する動きも出ている。従来多くの国では、質調整生存年（Quality Adjusted Life Year ; QALY）という健康アウトカム指標が用いられてきたが、近年それを見直す動きも見られる。患者視点をより重視した患者報告アウトカム（Patient Reported Outcome ; PRO）や不十分な医療による機会損失（本来なら得られたはず便益）などの新たな指標や、短期的な医療の成否ではない、長期的な健康アウトカムの測定手法について研究・検討する国も出てきている（【コラム①】参照）。また、経済性の評価やその政策への反映の際には、社会として個人の健康や医療に対する負担をどこまで負うか（willingness to pay by society）という議論が避けられず、終末期医療のあり方も政策的に論じられることになる。イギリスでは政府や医師会がこうした点について取り組みを行なっている。

17 戦略イニシアティブ「超高齢社会における先制医療」（JST-CRDS、平成 23 年 3 月）
(<http://crds.jst.go.jp/output/pdf/10sp09.pdf>)

【コラム①】 質調整生存年（Quality Adjusted Life Year ; QALY）

QALY は、効用値（ある病態の生活の質（Quality of Life ; QOL）を 0 ～ 1 で表したもの）と生存年数の積で表される（図 4）。生死をエンドポイントとする生存解析では区別できないケースも区別可能である。QOL と生存年数という医薬品の価値評価に必要な要因を単一の指標で同時に評価できるため、有効性だけでなく安全性も含んだ包括的な価値評価ができる点が特徴である。また疾病共通の指標であるため、医薬品、疾病の違いによらず、全ての評価結果を比較することが理論的には可能である。類似の指標としては Disability-Adjusted Life Years (DALY) と Healthy-Years Equivalents (HYE) があり、全体としては Health-Adjusted Life Years (HALY) と呼ばれることもある。

QALY 以外の指標を利用しようとする議論も行なわれている。例えばドイツでは、医療の質・効率研究所（Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen ; IQWiG）が 2007 年に評価手法の検討を開始し、費用と便益が知られているあらゆる選択肢の中から最も効果的な治療を決定するために「効率的フロンティア（Efficiency frontier）」という考え方を採用することが決まった¹⁸。アメリカに新設される PCORI でも QALY は使用されない予定である。イギリスでは損失寿命（Potential Years of Life Lost ; PYLL）を国の保健サービスの指標の 1 つとして取り上げることとなっている¹⁹。

なお、医療技術の費用対効果の評価は、増分費用対効果（Incremental Cost-Effectiveness Ratio ; ICER）によって示される。ICER は、増分費用／増分効果で表され、例えば QALY で効果を見る場合は、1QALY 分を多く獲得するために必要となる追加費用を推定する。医療技術評価を実施する際、とくに経済的な観点からの評価では、ICER の値が国や組織などで受け入れられる基準かどうか問題となるが、この基準は社会制度や文化的背景など、様々な要素が関連してくるものであり、各国で議論が続けられている。

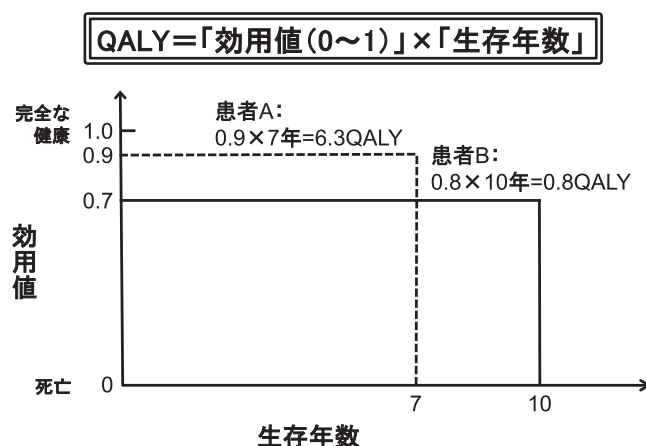


図 4. QALY について

18 「OECD 医療政策白書 費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして」（OECD 編著、明石書店、小林大高／坂巻弘之訳、2011）

19 「NHS Outcomes Framework 2012-13」

(http://www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/Publications/PublicationsPolicyAndGuidance/DH_131700)

2-3. 社会への働きかけ

（1）ステークホルダー間のコミュニケーション不足

医療技術評価の結果は、その利用方法によっては社会に対して重大なインパクトを持つ場合がある。評価が適切でも、ステークホルダー間でのコミュニケーションが十分でないと相互の信頼関係や連携の構築が進まず、結果として医療技術評価の社会への普及、浸透が滞ることになる。

例えば、評価結果が価格算定に用いられる場合、価格は研究開発側に対しては新規医療技術の開発インセンティブとして作用する一方、支払い側にはコスト負担として作用する。患者の側からは新規技術への迅速かつ円滑なアクセスが喫緊のニーズとなる場合も多い。したがって、複数関係者間での合意形成プロセスや判断決定者が不明確なまま評価のみが先行した場合、評価結果が十分かつ適切に活用されないばかりでなく、評価そのものが形骸化する可能性がある。ところが、わが国に限らず、医療技術評価に関する理解にはステークホルダー間で差異があり、また利害の対立が見られる場合がある。従って医療技術評価をめぐるステークホルダー間のコミュニケーションは問題を抱えやすく、慎重を期して解決すべき課題である。

（2）科学的根拠に基づいた政策決定過程

世界的に科学的根拠（エビデンス）に基づく政策形成が強く求められている。前述のようにわが国でも、科学的根拠に基づく政策形成の重要性や、医療技術評価の推進が科学技術政策文書に明記された^{20,21}。しかし現状では、医療政策や科学技術政策の形成に際し、科学的根拠を可能な限り戦略的に収集、蓄積して分析、評価を行い、透明性を持ってその結果を提示する仕組みが必ずしも十分に構築されていない。

（3）社会への普及とチェックの仕組み

特定の施策の普及状況や効果検証はわが国において常に問題となる。特定の医療技術や医療技術評価の結果が社会の中にどのように普及、浸透しているかをチェックする体制も同様に問題となっている。例えば、医療技術評価に基づき策定された診療ガイドラインなどが、臨床現場でどの程度活用されているかを把握することは重要である。そして、医療従事者の自立性を尊重しながら、診療ガイドライン活用を促進する仕組みが必要であるが、そういった体制整備は行なわれていない。また、前項でも述べたように、政策的な反映の程度、適切さについての検証も行なわれていない。

20 第4期科学技術基本計画（平成23年8月19日閣議決定）（<http://www8.cao.go.jp/cstp/kihonkeikaku/4honbun.pdf>）

21 平成24年度科学技術重要施策アクションプラン（平成23年7月21日、科学技術政策担当大臣、総合科学技術会議有識者議員）（<http://www8.cao.go.jp/cstp/siryo/haihu98/siryo3-2.pdf>）

3. わが国における医療技術評価の充実に向けた提案

3-1：提案

医療費、医療従事者、医療インフラなどの限りある医療資源を効率的に配分、活用し、医療システム全体の効果や持続性を向上させると共に、より良い医療技術の創出とその普及による社会への貢献とその成長を推進することは、わが国を始め成熟した超高齢社会へと突入しつつある多くの国や地域において喫緊の課題である。そのためには、高度化、多様化を続ける医療技術で大規模なデータや科学的な根拠に基づいて評価し、その利活用のあり方に関して合理的な意思決定を促すことが重要である。また医療技術評価では個々のステークホルダーがそれぞれの立場で評価を行ない、その評価内容を相互に比較し、総合的に判断して社会としての一定の合意へと到達することも重要である。その際には医療技術の医学的、経済的観点だけでなく、社会的、倫理的な観点も含めた包括的な評価が必要となる。

しかし、わが国は医療技術評価の実現には未だ多くの課題があり、全体的な取り組み度合いでは諸外国に後れをとっている。こうした現状を踏まえると、わが国でも医療技術評価の一層の充実と戦略的な実施に向けた背策を取るべきである。また国民への説明責任という観点から、評価結果を用いた客観的かつ透明性の高い医療政策決定プロセスの構築を目指すべきである。本章では、前章までにまとめた独立行政法人科学技術振興機構（JST）研究開発戦略センター（CRDS）での調査、検討の結果に基づいて医療技術評価の戦略的な実施に必要な機能とそれを支える構成要素を整理し、今後の具体的な方策として考えられる方向性を提案する。

3-2：医療技術評価の戦略的实施に必要な機能

医療技術評価の戦略的な実施に必要な機能は、（１）全体統括機能（司令塔機能）、（２）調査・分析機能、（３）評価後フォローアップ機能、（４）基礎・基盤研究機能、の４つと考えられる。以下、各機能の役割をまとめる。

（１）全体統括機能（司令塔機能）

先進的な取り組みを行なっているイギリスやアメリカでも、現時点では医療技術評価の実施主体が複数存在し、またそれぞれの連携は必ずしも明確でない。しかし、医療技術評価を国として戦略的に実施、活用するためには、全体を統括し調整する、いわば司令塔のような機能が必要である。また司令塔機能は、医療技術評価の科学的根拠としての信頼性と、政策的な意思決定に資する情報としての質を管理、維持する役割も同時に担う。

具体的な実施項目は、以下に示すように、評価の要否判断と実施に際しての優先順位付け、評価開始時点での全体計画立案・調整、評価結果の最終とりまとめ、政府当局や関連学会への助言（実質的な方針提示）、評価結果の社会への普及などである。

政府当局への助言は、形式的には評価結果の報告であるが、科学的根拠に基づく検討の結果であり、実質的には一定の影響力を持った助言であるべきである。イギリスの医療技

術評価実施機関である NICE はガイドランスを作成し、政府に対して当該医療技術の「推奨」の有無を提示するが、それは事実上の決定事項となっている。対照的に、アメリカの AHRQ は、あくまで医療政策上の判断材料を提供するのみという態度に徹している。

関連学会への助言は、診療ガイドライン案の提示、あるいは学会による診療ガイドラインの作成に資する情報提供などが考えられる。考えられる情報としては個別技術（診断、治療に用いる製品や手技など）の評価、公衆衛生上の有効な施策の評価などが挙げられる。

<実施項目>

- 社会や行政など外部からの要請や、自主調査結果（Horizon Scanning による新規技術動向センサスなど）などに基づき対象とする医療技術を検討する（【コラム②】参照）。
- 必要な評価項目、実施担当機関、予算、期間など、医療技術評価の実施の際に明確化すべきポイントを検討し、後述の「（２）調査・分析機能」に実施を指示する。（【コラム③】参照）。
- 提出された調査・分析結果を精査し、当初設定したポイントに関する知見や推奨内容について検討・評価する。
- 評価結果に基づく助言を政府当局や関連学会に対して行なうとともに、活用が不十分な場合はさらなる働きかけを行う。
- 臨床の医師など医療専門職、患者、および社会一般が接することができるよう評価結果とその検討経緯を公開する。

【コラム②】 Horizon Scanning²²

新たに開発されつつある技術の動向を監視（スキャン）する取組み。主な目的は以下のとおり。

- 医療技術評価の対象となりうる項目を特定し、それらの間で優先順位付けするための情報を集める。
- 技術が実際に使用される際に期待される成果を明確にする。
- 新規技術についての理解を深める。
- 技術が健康や経済にもたらすインパクトを予測する。
- 費用対効果の閾値を設定する。
- 社会的、倫理的、法的側面について検討する。

²² HTA 101 「INTRODUCTION TO HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT」 (Clifford S. Goodman, 2004)

【コラム③】医療技術評価の方向性²³

医療技術評価は必ずしも1つの医療技術についての評価だけではない。主に以下に示す3つの方向性がある。ただし、それぞれにおいて実際に行なわれる科学的な調査・分析の項目は類似していたり相補的であったりする。

①技術を対象とする評価

特定の医療技術の性質や、医療サービスの利用側／提供側にとっての、経済的、社会的、産業的なインパクトなどを評価する（例：集団を対象としたがんのスクリーニング、人工内耳、など）。

②問題解決を目指した評価

特定の問題に対して複数の相補的あるいは代替関係にある医療技術が存在した場合の解決方策を検討する（例：現状では病歴、神経学的検査、多様なイメージング検査などによって行なわれる認知症の診断に関する実践的なガイドラインの開発、など）。

③プロジェクトの目的に合わせた評価

より個別具体的な状況下での医療技術の使用について検討する（例：ある病院でMRIを導入すべきか否かを検討する、など）。

（2）調査・分析機能

前述の「（1）全体統括機能」によって医療技術評価の実施対象及び全体計画が決まった後は、その計画に従って安全性、有効性、経済性、社会性、倫理性などに関する調査・分析を行なう機能が必要になる。本機能は「（1）の全体統括機能」を担う組織と同一の組織が担っても、別の組織が担ってもよい。具体的な実施項目は以下のとおりである。

なお本機能は後述の「（4）基礎・基盤研究機能」とは異なる位置づけであるが、常に最先端の技術や方法論によって調査・分析は行なわれる必要があるため、両者は日常的に連携すべきである。

<実施項目>

- 全体計画に従って、調査・分析上の課題を明確化する。またその課題に沿って検証すべき調査・分析項目を整理する。
- 既存のエビデンスの検索・収集を行なう。エビデンスが十分でない場合は必要なデータの新規収集を検討する。得られたエビデンスやデータを分析する。
- 事前に設定された調査・分析上の課題に照らしての評価・解釈を、集められたエビデンスに対して与える。
- 実施担当機関間でエビデンスを持ち寄り、統合・まとめの作業を行なう。
- 結果を「（1）全体統括機能」に提出する。

²³ HTA 101 「INTRODUCTION TO HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT」 (Clifford S. Goodman, 2004)

（３）評価後フォローアップ機能

一般的に医療技術評価は新規技術に対して需要が高いが、新規技術ほど実際の臨床で使用された実績が少ない。そのため、臨床研究や治験での評価結果が、実際に臨床現場で広く使い始めると必ずしも当てはまらないこと判明する場合もありうる。また、評価結果が適切であっても、何らかの理由によって医療の現場に反映されていないケースも考えられる。さらに新規技術に限らず臨床上の情報の蓄積等が特定の医療技術に対する評価結果をたちまち陳腐化させる可能性もある。

そのため、医療技術評価の結果がどの程度社会で活用されているのか、活用されている場合は実際にどの程度の効果が上がっているのか、次々と現れる新技術の中で優位性を保っているか、などの状況を適宜モニタリングし、その内容を関係するステークホルダーへフィードバックし、改善につなげていくようなフォローアップ機能が必要である。

具体的な実施項目は、以下に示すように、医療技術評価結果の社会への普及状況の継続的なモニタリング、評価結果の妥当性に関する定期的な分析・検証、そして改善に向けたフィードバック（再評価の提案など）などである。本機能の実施は、「（１）全体統括機能」および「（２）調査・分析機能」と同一組織であっても、別組織であってもよい。

<実施項目>

- 医療技術評価の結果が、医療政策や診療ガイドラインなどに反映されているか、臨床現場でどの程度の効果を上げているのか、関連する技術分野の動向などについて、モニタリング調査を科学的に行なう。
- 医療技術評価の結果の妥当性や再評価の要否などについて、特定の医療技術に関するモニタリング調査結果の分析、検証を定期的に行なう。
- 再評価（医療技術評価の更新）の必要性が高い場合は「（１）全体統括機能」にフィードバックする。

イギリスでは、NICE が診療ガイドライン実施状況に関する情報収集を行ない、報告書を作成している²⁴。スウェーデンでは、1987年に設立された医療技術評価協議会（SBU）が、医療技術評価の積極的な普及を目的として医療現場での医療技術評価結果の活用状況の調査・とりまとめを行なっている²⁵。わが国においても、臨床現場の自立性を尊重しながら、医療技術評価に基づき策定された診療ガイドラインなどが活用されているかどうかを継続的にチェックする仕組みが必要である。

（４）基礎・基盤研究機能

医療技術評価は発展途上にある研究分野である。また評価を取り巻く医学的、技術的、経済的、社会的状況は日々変化していく。従ってそれらを支える知的基盤、情報基盤は継続的に整備し、適宜強化する必要がある。

研究の方向性は以下に例示するとおり、【医療技術評価の方法論に関する研究】と、【医療技術評価を支える基盤的な研究】に大別される。実施主体は、前述の３機能のいずれと同一組織であっても、別組織であってもよい。

24 http://www.nice.org.uk/usingguidance/evaluationandreviewofniceimplementationevidenceerne/evaluation_and_review_of_nice_implementation_evidence_erne.jsp

25 「OECD 医療政策白書 費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして」（OECD 編著、明石書店、小林大高／坂巻弘之訳、2011）

【医療技術評価の方法論に関する研究の例】

1) モデリング研究

分析に必要な健康アウトカム関連データは多くの場合で不足していたり、規格が統一していなかったりする。従って、データの蓄積と同時に、分析において不足したデータを補う工夫が必要になる。また、疫学研究など集団を対象とした研究では大量の臨床データを効率的に処理し、分析することが必要になる。こうした問題を解決する主要な手段の1つがモデリング研究である。

医療技術を使ったことによる QOL と生存年（余命）の変化を定量化する場合を例にとると、現在は以下のようなモデルが使われている。

① ディシジョンツリー

短期間での健康アウトカム変化をシミュレーションする際に用いられるモデル。主に急性疾患や手術の術後管理などを対象に用いられる。

② マルコフモデル

より長期間での変化をシミュレーションする際に用いられるモデル。主に慢性疾患などを対象に用いられる。

③ モンテカルロシミュレーション

複数の疾患が同時に進行していくケースに用いられるモデル。糖尿病に関する分析で用いられることもある。

2) 健康アウトカムの評価に関する研究

医療技術の健康への効果（健康アウトカム）をどのように評価するかは、医療技術評価において最も重要な研究テーマの1つである。以下のような検討事例がある。

① 費用便益分析

支払意思額（Willingness to Pay ; WTP）や社会コストという考え方をを用いて健康アウトカムの金額への換算が検討されている。WTP では特定のサービスの享受に対する支払い意欲を測ろうとする。社会コストの推定では医療費以外に発生するコストや患者の生産性損失なども含めて特定の医療技術の経済的な価値を評価しようとするが、その定量化が課題となっている。

② 費用効用分析

これまで QALY（QOL と生存年数の積）（【コラム④】参照）が世界でも標準的な指標であったが、その改良あるいは代替となる指標の開発が検討されている。例えば、QALY の代替として PRO と呼ばれる、患者からの報告に基づき痛みや疲労感といった項目を扱う指標がある。アメリカの規制当局である FDA では、2009 年 12 月に、PRO をプライマリーエンドポイントとする詳細な治験ガイダンスを発表した。

3) 臨床経済学的分析の手法に関する研究

経済性に関する研究は医療技術評価関連研究の中でも主要分野の1つであり、以下に示すような手法の開発や、特定の事例に関する詳細な分析などが行なわれている。

① 費用最小化分析（cost-minimization analysis）：

2つの代替案の結果が同じと仮定して代替案どうしのコストを比較する。

② 費用効果分析（cost-effectiveness analysis）：

治癒率や5年生存率など、臨床上のさまざまなアウトカムを用いる。

③ 費用便益分析（cost-benefit analysis）：

アウトカムを金額に換算する。金額に換算することで医療技術に限らない多様な対象と比較が可能になる（例：教育などの政策との比較）。仮想評価法（contingent valuation method; CVM）により支払意思額（WTP）を求める方法も現れてきている。

④ 費用効用分析（cost-utility analysis）：

効果の指標として生存年数と QOL の両方を考慮した QALY などの効用値を用いる。患者の主観である QOL を用いる点は客観的な数値を用いる費用効果分析と対照的。

⑤ その他

Cost-of-illness analysis や cost-consequence analysis などの分析手法が存在する。

こうした方法論の研究が重要であることは、これまでも指摘がなされている。第四期科学技術基本計画（平成 23 年 8 月、閣議決定）では科学的根拠（エビデンス）に基づく政策形成が強く求められており、科学技術イノベーション政策における「政策のための科学」に関する制度設計およびその実施が進みつつある。医療政策においても同様に、医療技術評価を医療政策に十分に活用するための科学的な検討が必要である。

例えば医療の経済性の評価については、以下に示すように、主に厚生労働科学研究費補助金によって薬価算定に関する研究がある程度行なわれている。今後は医学的、経済的、社会的、倫理的観点からの総合的評価など、科学的根拠に基づいた医療政策形成の実現のための一層の充実が必要である。

（近年の採択課題）

- 平成 17-18 年度「医薬品・医療機器を対象とした社会経済評価ガイドライン策定のためのエキスパート・コンセンサス形成と提言に関する研究」
- 平成 22 年度「医療経済評価研究の政策への対応に関する予備的研究」
- 平成 24 年度「費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究・調査」（平成 24 年度予算要求）

なお JST-CRDS では「戦略提言 エビデンスに基づく政策形成のための「科学技術イノベーション政策の科学」の構築」（平成 23 年 3 月）²⁶を通じて、科学的に合理性のある政策の形成、その形成過程の合理化、形成過程の透明性向上、国民への説明責任向上の必要性などを提言している。

【医療技術評価を支える基盤的な研究の例】

1) 医療情報インフラ構築のための研究

医療技術評価は、健康アウトカムに関する情報などの医療情報があって初めて実施可能になる。従って、優れた利便性や高い安全性（プライバシー保護など）の確保、効率的な情報の蓄積を実現するためのインフラ構築に関する研究は、極めて重要である。

²⁶ <http://crds.jst.go.jp/output/pdf/10sp13.pdf>

2) 医療情報インフラを用いた臨床研究（疫学研究など）

既存データの活用は、医療技術評価を実施する上で最初に検討する項目であるが、仮に特定の医療技術の評価に必要なエビデンスが存在しない場合は、新規に疫学研究などの臨床研究を実施して臨床データを収集することになる。

わが国では、疫学研究についてこれまで十分な取組みがなされてこなかったが、近年、疫学研究の推進が国として指摘されるようになった。総合科学技術会議は、平成24年度科学技術重要施策アクションプランにおいて、重点的な取り組み目標の1つとして「大規模ゲノムコホート推進体制の構築」を挙げた²⁷。こうした国の方針に従って、今後一層の疫学研究の推進が望まれる。

なお、JST-CRDSでは以下のような提言を通じて、わが国における疫学研究ならびにその情報基盤構築の必要性について提言している。

- 「戦略イニシアティブ 超高齢社会における先制医療の推進」（2011年3月）²⁸
- 「戦略イニシアティブ 感染症対策の統合的推進 -ワクチン、アジュバント開発、感染症疫学とそれらの社会実装-」（2012年3月発刊予定）²⁹
- 「戦略イニシアティブ 健康破綻のリスクを予測する基盤技術の開発 -わが国の包括的コホート研究のデザインに向けて-」（2011年3月）³⁰
- 「戦略プログラム 生命・医学・医療・健康をつなぐ情報を循環させる技術と基盤の構築と活用 -トランスレーショナル・ヘルスインフォマティクス・ベースの展開-」（2010年3月）³¹

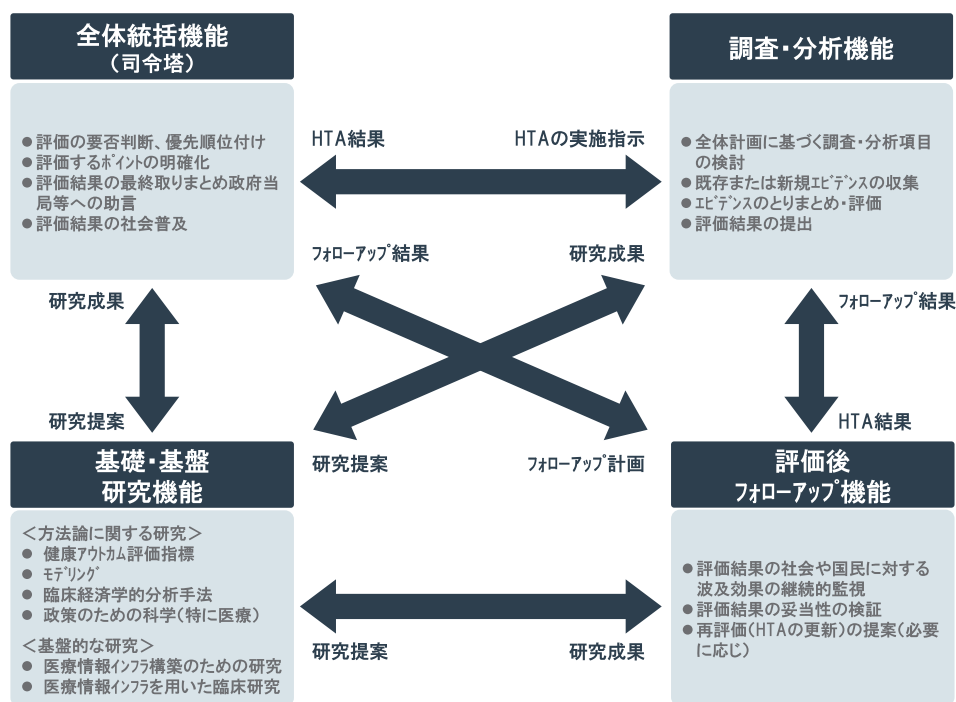


図5. 医療技術評価の実施に必要な機能

27 <http://www8.cao.go.jp/cstp/siryo/haihu98/siryo3-2.pdf>28 <http://crds.jst.go.jp/type/proposals/201103010004>29 <http://crds.jst.go.jp/domains/life/201203020315>30 <http://crds.jst.go.jp/type/proposals/201103010006>31 <http://crds.jst.go.jp/domains/life/201003011004>

3-3：医療技術評価を支える人材、ネットワーク

前述の「3-2：必要な機能」は、（１）医療技術評価実施主体を取り巻くステークホルダー、（２）ネットワーク、（３）専門人材、の３つの構成要素によって支えられる。以下、各構成要素についてまとめる。

（１）医療技術評価実施主体を取り巻くステークホルダー

1. 行政機関：
規制当局（審査・承認、保険収載／診療報酬設定／薬価算定など）
2. 医療コスト負担側：
公的／民間保険業、診療報酬検討機関、自治体、健康保険組合を有する企業
3. 医療サービス提供側：
医療機関、医療周辺サービス
4. 医療サービス利用側：
患者・消費者団体
5. 研究開発側：
公的研究開発機関、企業（研究開発）

（２）ネットワーク

1. 府省連携：
産業育成・研究開発・医療制度を考慮した全体戦略の検討・立案、予算上の連携
2. 産学官連携：
医療技術評価実施に係る共同研究（疫学研究、臨床研究など）、情報交換、知見共有、相互協調、人材交流、医療技術評価の重要性ならびに評価結果の社会への普及啓発
3. 国際連携（【コラム④】参照）：
国際的な評価事例把握、技術動向把握
4. 医療情報インフラ：
各種医療情報データ（臨床研究データ、診療データ（特にアウトカムデータ）、医療費データ）の収集・蓄積・利活用

【コラム④】 医療技術評価に関する国際ネットワーク**●European network for Health Technology Assessment (EUnetHTA) :**

2006年～2008年に実施されたEUnetHTAプロジェクトがベースとなって発足したHTA検討グループであり、欧州委員会、EU加盟国、NGOなどの34機関が構成メンバーとなっている。現在、欧州委員会からの予算を受け、効果的で継続可能なHTAを欧州に導入することを目指したJoint Action 2010-2012が実施されている。

●HTA international (HTAi) :

世界40カ国以上にあるHTA実施機関、医療従事者、支払い機関、産業などから構成される。

●International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) :

公的機関や民間NPO団体を含む約40の機関が参加したHTAの報告書データベースの共有および共同利用機関。

●International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) :

1995年に組織された薬剤経済学とアウトカム研究の啓発と普及を推進する国際学会。日本部会は2005年8月に設立され、2007年4月には以前から活動していた臨床経済学研究会と統合し、「臨床経済学研究会・ISPOR日本部会」となった。

(3) 専門人材

医師などの医療専門職、各ステークホルダーの組織・機関経営者、研究者（疫学、生物統計学、計算科学、薬学、倫理学、社会学、経済学、法学など）、プログラマー、エンジニア、情報処理・管理の専門家、患者・患者団体など、医療技術評価を実施する上で必要な専門人材は多様である。これら専門人材が、医学的、社会的、倫理的、経済的な評価を連携しながら実施することで、総合的な評価につながると考えられる。

3-4：具体的な方策

わが国における医療技術評価の一層の充実に向け、これまでに述べた機能や構成要素を実現するため、現在必要と思われる具体的な方策を以下に提案する。

(1) 政府主導・府省連携による医療技術評価の充実に向けた検討

今後の医療政策の全体戦略のもと、医療技術評価の位置づけや実施体制のあり方などについて府省の枠を超えた議論、検討を開始する。そのうち司令塔機能を担う主体に関しては、慎重な議論によって検討されて決定されるべきであるが、医療技術評価の本来の役割と内容、具体的に推進すべき課題などを考慮すると、関連府省の協力と支援を得つつ、そ

れらに対して一定の権限を有する組織であることが望ましいと考えられる。

（２）ステークホルダー間の連携体制の強化

連携体制の強化を多様な形で進める。例えば、産学官の間での医療技術評価に関する共同研究や共同プロジェクトの実施が考えられる。また、透明性が担保された開かれた議論を定期的に行ない、相互連携や参加を促す仕組みも必要と思われる。例えば医療技術評価に対する理解の醸成や相互連携の強化などを目的に、学術的な研究成果の発表、国内外での関連動向や知見などの共有、日本における医療技術評価のさらなる充実のための方策についての議論などの場として、ステークホルダーが一堂に会するフォーラムを立ち上げるということも考えられる。こうした取り組みを通じたステークホルダー間のディスカッションの積み重ねが、わが国の社会的、文化的背景に適した研究手法の確立や、医療技術評価の質の向上にもつながると期待される。

（３）診療情報の収集とさらなる利活用

医療技術評価に必要な情報を、大規模かつ迅速に収集するインフラの整備は大きな課題である。その一方、既存の枠組みを生かして、レセプトデータや診療データ、健康診断で得られるデータなどを効果的・効率的に収集し、現状最善のリソースとして活用することも重要である。データ活用のためには患者や臨床現場への負担を極力抑えたデータ収集方法の構築や、既存の統一フォーマットの活用促進、収集が必要な新規データの探索、などに関する検討が必要である。

（４）専門人材の確保と育成、配置

現状、わが国で医療技術評価を実際に実施できる専門人材の数は限られている。従って当面の人材の確保および中長期的な育成計画を体制整備と並行して議論する。

例えば、諸外国と比してわが国の公衆衛生大学院は規模が小さいが、公衆衛生大学院の活用が、医療技術評価の調査・分析、ならびに基礎・基盤研究の推進や人材育成などにおいて重要になる。こうした機関へ海外から研究人材を呼び込むことができれば、国際的な連携体制強化の一助ともなると期待できる。

共同研究を産学で実施することによる人材の育成も考えられる。これにより医療技術評価に対する認識を共有し、よりよい方法論の開発やケース・スタディを積み重ね、さらにはステークホルダー間での相互理解や連携体制が構築できると期待できる。また、こうして育成した人材のキャリアパスの確立も重要である。

（５）医療技術へのアクセシビリティの確保

結果的に特定の医療技術に対して低い評価が出た場合も、当該技術への患者からのアクセスを何らかの形で担保する仕組みを検討する必要がある。

イギリスで同様の事態が発生した際には評価結果の妥当性や医療へのアクセスが阻害されることの社会的な是非を問う議論が行なわれた。議論の結果、Patient Access Scheme と呼ばれる制度が導入され、低い評価であっても技術開発側との間で合意に至った場合には改めてアクセスを確保できることが可能となった。このように医学的、経済学的評価のみに依らない総合的な判断が医療技術評価では必要である。

参考：各国の事例

①イギリス

イギリスでの医療技術評価は、その政策的な位置づけや実施のタイミングによって複数の機関に分かれて実施されている。例えば、わが国で医薬品医療機器総合機構（PMDA）が担っているような新規技術の安全性・有効性の評価・審査は、技術の性質や実施のタイミングによって欧州連合の審査機関である EMA（European Medicines Agency）、あるいはイギリス国内の審査機関である MHRA（Medicines and Healthcare products Regulatory Agency）が連携して行なっている。承認を得た技術が、イギリスにおける医療提供を担う英国保健サービス（NHS）で新たに採用されるべきかの是非には、NICE によって経済性を加味した評価が行なわれ、判断される。各地域の NHS は、このガイダンスの内容に対して発行3か月以内に予算措置を行い、順守することになっている。また、NICE では、NHS で採用されるに至った技術について、その効果的・効率的な活用を目指したガイドラインの策定、公表も行なっている。

研究開発のより初期段階においては、例えば研究および研究支援機関である MRA（Medical Research Council）の予算で開発された技術のうち、産業化は困難であるが政策上重要と予想される技術シーズに対しては、NIHR（National Institute of Health Research）内にある、NETSCC（NIHR Evaluation, Trials and Studies Coordinating Centre）が有効性の初期検証を行い、その後の開発の継続について検討する仕組みとなっている。また、医薬品や医療機器、生物製剤を含む先端医療技術の評価とは別に、既存の医療サービスの質や NHS の制度そのものへの評価も行なわれており、こうした評価は同じく NETSCC や NIII（NHS Institute of Innovation and Improvement）などで行なわれている。さらに、これらの機関で行なわれる評価の結果、新たに判明した研究テーマは、いずれも研究支援組織（MRC や NIHR など）にフィードバックされ、その後の研究開発戦略策定の一助とされる。

こうした評価と合わせ、NHS が発行する NHS Outcome Framework を基に、医療の質や健康上のアウトカムの指標の開発も行なわれている。2011 年末に発表された同報告では、アウトカムとして 75 歳以下の死亡者数の減少、介護生活の質の向上、傷病からの回復支援、ケア満足度の改善、診療の安全性の向上の 5 つの領域が示されている。また NHS は、患者の主観的評価である PRO の導入にも積極的であり、2009 年からその測定を実施している。

さらに、こうした評価結果を医療技術の価格設定に用いる試みもなされている。現在、Value-Based Pricing と呼ばれる価格設定方式を 2014 年から導入することが検討され、そこでは従来の評価で用いていた QALY に加え、治療の革新性や社会的なインパクトも加味した価格設定も評価に加えるとされている。しかし、こうした評価をどのように価格に反映するかについては未だ明確にされていない。このため、複数の技術評価指標をどのように価格という指標へと収束させていくか、新規技術へのアクセスをどのように担保するかといった課題について、研究、検討が続けられている。

このように、イギリスの仕組みでは新たな医療技術について、そのもたらすアウトカムを多面的に評価すると同時に、技術の価値を最大限享受すべく、その適正な提供に関する

指針の策定と普及のための施策（制度改革など）が継続的に進められるようになっている。また、技術評価に複数の機関が関わっているが、人材の共有や共同研究によって情報共有を推進している。

以下、イギリスの医療技術評価で中心的な役割を担う、NICE と NETSCC について記載する。

< NICE >

1999 年に NHS 内に設立された機関であり、承認された医薬品や医療機器等の医療技術を英国の医療サービス（NHS）として導入するかどうかを事実上決定する役割を担っている。設立の背景として、90 年代にイギリス国内において、医療の質や成果を評価する仕組みや専門職向けのガイダンスを作成する独立機関がないことが議論となったこと、当時のブレア政権化で NHS の強化施策が進められ、医療サービスの地域格差の是正や医療の質の向上が推進されていたことなどが挙げられる。

NICE のスタッフは 400 人を超え、その予算は主に NHS から受けるものの、ガイドラインの策定などでの判断の中立性を担保するために、運営組織や意思決定は NHS から独立している。主な実施内容として、医薬品や医療機器、診断機器、手術などの手技、保健事業などを対象とした技術を、臨床上のエビデンスや経済上のエビデンスから評価するほか、これらの評価に基づいた専門職向けの臨床ガイドラインの作成や、一般国民に向けた健康ガイドラインの発行も行なっている。さらに、こうした評価やガイドラインの作成上でエビデンスの不足が明らかになった場合、追加の研究や調査を NIHR などの研究支援機関に推薦することもできる。

NICE の技術評価は、その結果に基づいて NHS での採用の是非が決まるために政策決定への影響力が大きい。また、時代の変化や技術の進歩に応じて医療技術の評価手法や費用対効果の判断基準も見直していく必要がある。このため、評価においてより社会的な判断が必要な場合、NICE の組織する国民委員会に諮って、意見を聴取することとなっている。また、継続的に医療経済手法の研究を行なっている。

< NETSCC >

NETSCC は NHS の研究開発部門である NIHR の管理部門であり、サザンプトン大学内に設置され、約 200 人のスタッフを抱えている。NIHR は、1991 年に NHS の予算の 1 % を NHS の向上、改革などのために用いるという施策に基づく機関であり、約 10 億ポンドの予算規模を持つ研究機関兼研究助成機関である。

NETSCC は、NIHR が実施あるいは支援を行う研究の課題抽出、優先順位づけ、資金管理、結果の公表などを行っており、前述の NICE にも助成を行なっている。政策決定を直接関与する機能は持たない。内部には EME（Efficacy and Mechanism Evaluation）、HS&DR（NIHR Health Services and Delivery Research）、HTA などの部門があり、EME 部門では主に、MRC の研究成果に対して、有効性の早期評価や比較研究を行なっている。また最近では、遺伝子情報を用いた個別化医療に対しても、その初期検証を行うなどしている。HTA 部門は、すでに EMA など承認を得た技術などを対象として、その有効性や費用対効果の検証を行なっている。内部に 6 つのパネル（医薬品、医療機器、診断検査、治療手技、理学療法、心理療法）を持ち、それぞれが研究の優先順

位を決めている。パネルには民間人も含まれ、できるだけ患者側や社会側のニーズを汲むような体制となっている。研究の選定には NHS の方針が反映され、大まかに研究者主導のもの、委託研究として行うもの、テーマを決めて公募するものがある。2012 年 1 月時点で、200 程度の臨床研究を行っており、技術などの費用対効果について科学的なエビデンスを得ることが目的となっている。

②アメリカ

アメリカの医療制度は、他の先進国に比べて民間主導の色彩が濃い。また、国民医療費が世界で最も高く、医療財政を担う医療保険を政府と民間企業の双方が担っているために、医療技術の費用対効果や実効性に関する評価も民・官でそれぞれ行なわれている。

アメリカで、上市前の新規医療技術の安全性や有効性を評価するのは、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration ; FDA）である。FDA では、医薬品、医療機器、生物製剤といった技術の特性ごとに審査が行われ、承認された技術は保険者側の判断で医療保険への収載が検討される。例えば、公的医療保険である Medicare や Medicaid では CMS（Center for Medicare and Medicaid Service）が保険収載の判断を行なっている。上市後の技術評価は、NIH 傘下の研究機関である米国医療研究品質庁（Agency for Healthcare Research and Quality ; AHRQ）が調査を行うほか、民間企業では大手保険会社であるブルークロス・ブルーシールド社が設立した Blue Cross Blue Shield Technology Evaluation Center や、Hayes 社なども同様の評価を行なっている。これらの機関は臨床上的有用性に関するエビデンスを提供しており、関連機関や企業がそれらを参考に政策決定や経営判断、臨床判断を行う。また、こうした評価を行うためのデータ収集やデータベースの構築も官民の双方で行なわれており、AHRQ のプロジェクト（後述）のほか、民間保険会社向けのデータベース（Marketscan® など）が数千万人に及ぶ診療情報を収集、統合して評価目的に提供している。近年では、患者にとっての医療のアウトカムの面から技術进行评估する第三者機関、Patient-Centered Outcomes Research Institute（PCORI）が創設された。PCORI は非政府団体（NGO）として設立され、評価の方法論の研究、関連情報の周知、医療関係者の教育などを担うことになっており、AHRQ からメンバーが参加している。

医療技術評価は米国の一連の医療改革のなかで役割が強化され、2009 年に制定された米国再生・再投資法（American Recovery and Reinvestment Act ; ARRA）では、米国国立衛生研究所（National Institutes of Health）に対し、2 年間で約 100 億ドルが拠出されることが決まり、その内の約 4 億ドルが効果比較研究（Comparative Effectiveness Research ; CER）の推進に充てられることになっている。これは、新規技術が既存技術に比してどれだけ優位性を持つのかを、費用対効果の面から検証するための研究である。2011 年時点で 10 の臨床試験が実施中である。また、こうした改革と同時に、提供された医療への報酬を、わが国のような出来高払いではなく、医療のアウトカムに応じて支払う方式へと徐々に移行する動きもあり、評価結果を政策や診療の現場へ適正に反映するための施策も進められている。以下、AHRQ について記載する。

< AHRQ >

Department of Health & Human Service (HHS) の 12 の部署の 1 つ。約 300 人の職員がおり、年間 3 億ドルの予算が充てられており、市販後の技術に対し、臨床上の有用性を評価、研究している機関。市場後調査などを行なっている。AHRQ では、臨床現場での有用性を検証するための種々のプロジェクトを実施しているが、例えば医療費と有効性に関するプロジェクト（Healthcare Cost and Utilization Project ; HCUP）では、入院患者に関するデータなど 6 つのデータベースを運用し、医療費の動向や医療の質、技術の普及状況などを研究している。また、同プロジェクトでは医療の質に関する指標の策定や、研究結果の一般への公開も合わせて行なっており、同機関のホームページ上から検索が可能である。

主要な参考文献

本報告書の作成にあたって、とくに参考とした文献を以下に列挙する。これら文献を含め、参考文献やホームページ情報など、本文脚注に記載した。

- ① C. Goodman、2004、「HTA101: Introduction to Health Technology Assessment」
- ② Pharma IQ、2011、「Health Technology Assessment HTA & CER Industry Overview」
- ③ 福田敬（分担研究者代表）、2011、「医療経済評価研究の政策への応用に関する予備的研究 報告書」、平成 22 年度厚生労働科学研究費補助金政策科学総合研究事業による分担研究報告書
- ④ OECD 編著、小林大高／坂巻弘之訳、2011、「OECD 医療政策白書 費用対効果を考慮した質の高い医療をめざして」、明石書店
- ⑤ 池田俊也ら、2011、「薬剤経済学の新薬の薬価算定への利用可能性と課題（上）」、社会保険旬報、No.2467
- ⑥ 坂巻弘之ら、2011、「薬剤経済学の新薬の薬価算定への利用可能性と課題（下）」、社会保険旬報、No.2468

謝 辞

本調査報告書の作成にあたって、以下の先生方に多数の貴重なご意見をいただき、また国内外の最新の研究動向や医療政策の動向などについて情報提供をいただきました。ここに深く御礼申し上げます。（以下敬称略、50音順、2011年11月時点）

- ・池田 俊也（国際医療福祉大学薬学部薬学科 教授）
- ・坂巻 弘之（名城大学薬学部 臨床経済学研究室 教授）
- ・下妻晃二郎（立命館大学総合理工学院 医療政策・管理学研究室 教授）
- ・田倉 智之（大阪大学大学院医学系研究科 医療経済産業政策学 教授）
- ・福田 敬（東京大学大学院医学系研究科 臨床疫学・経済学分野 准教授）

また、国内外の医療技術評価に関係する行政担当者の方々からも、多くの情報提供を賜りました。心より感謝申し上げます。

■報告書作成メンバー■

浅島 誠	上席フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
山本 雄士	フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
辻 真博	フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
中村 亮二	フェロー	(環境・エネルギーユニット)

※お問い合わせなどは下記ユニットまでお願いします。

CRDS-FY2012-RR-08

調査検討報告書

医療の持続的発展に向けた戦略的な医療技術評価 (Health Technology Assessment)の推進

平成 24 年 3 月 March 2012

独立行政法人科学技術振興機構 研究開発戦略センター
ライフサイエンス・臨床医学ユニット
Life Science / Clinical Research Unit, Center for Research
and Development Strategy
Japan Science and Technology Agency

〒102-0076 東京都千代田区五番町 7 K's 五番町 10F

電 話 03-5214-7481

ファックス 03-5214-7385

<http://crds.jst.go.jp/>

© 2012 JST/CRDS

許可無く複写／複製することを禁じます。

引用を行う際は、必ず出典を記述願います。

No part of this publication may be reproduced, copied, transmitted or translated without written permission.

Application should be sent to crds@jst.go.jp. Any quotations must be appropriately acknowledged.

