

薬剤経済学的評価に関する製薬企業へのアンケート調査

池田俊也

(国際医療福祉大学 薬学部薬学科 教授)

三ノ宮浩三

(医薬産業政策研究所 主任研究員)

医薬産業政策研究所

リサーチペーパー・シリーズ

No. 44

(2008 年12月)

本リサーチペーパーは研究上の討論のために配布するものであり、著者の承諾なしに引用、複製することを禁ずる。

本リサーチペーパーに記された意見や考えは著者の個人的なものであり、日本製薬工業協会及び医薬産業政策研究所の公式な見解ではない。

内容照会先：

池田俊也

国際医療福祉大学 薬学部薬学科

〒324-8501 栃木県大田原市北金丸2600-1

国際医療福祉大学 薬学部

TEL：0287-24-3449 FAX：0287-24-3521

E-mail：ikeda@shunya.jp

三ノ宮浩三

日本製薬工業協会 医薬産業政策研究所

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町3-4-1

トリエ日本橋ビル5F

TEL：03-5200-2681 FAX：03-5200-2684

E-mail：sannomiya-opir@jpma.or.jp

URL：<http://www.jpma.or.jp/opir/>

謝辞

アンケート調査にご協力いただいた多くの企業の皆様に深く感謝いたします。また、本調査の企画にあたり、慶應義塾大学大学院 健康マネジメント研究科 医療マネジメント専修 医薬経済学 鎌江 伊三夫教授ならびに名城大学薬学部 臨床経済学 坂巻 弘之教授をはじめ、多くの方から貴重な助言を賜り、ここに深甚たる謝意を表します。

目次

はじめに	4
第1章 アンケート1	
（薬価算定時における薬剤経済学的評価資料の提出状況）	5
第1節 集計結果	5
第2節 公表論文のレビュー	24
第2章 アンケート2	
（各製薬企業が持つ専門組織を含めた薬剤経済学的評価の利用状況）	26
第1節 医療経済学的評価を専門に行う組織	26
第2節 日本における研究開発の意思決定への医療経済学的評価の利用状況	29
第3節 薬価交渉時の医療経済学的分析結果提出状況	31
第4節 マーケティングにおける医療経済学的評価の利用状況	32
第5節 薬価再算定での医療経済学的評価の使用経験	33
第6節 今後の医療経済学的評価の活用	34
第3章 考察	35
参考文献	38
アンケート用紙1	39
アンケート用紙2	47

はじめに

薬剤経済学研究は、諸外国において医療に関する政策決定における利用が進展している。薬剤経済学的評価の医療政策への導入は主に欧州諸国で進んでおり、さまざまな機関が設立され、保険償還の可否といった意思決定等に利用されている[1]。そのため各製薬企業は対象国において薬剤経済学的評価を実施することが必須となっている。端緒は、1992年にオーストラリアが薬剤経済学研究ガイドラインを作成し、承認申請時に経済評価データの添付を義務付けたことである。1994年にカナダ医療技術評価調整局が医薬品および医療機器を対象とした社会経済評価ガイドラインを公表し、主として保険償還の可否といった意思決定に経済評価データを利用している。国際的に注目されることの多いイギリスNICE (National Institute of Clinical Excellence) が設立されたのは1999年である。さらに、2004年にはドイツでIQWiG (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen)が設立された。また、2008年1月より韓国のHIRAが薬剤経済学的評価を義務化するなど、医療政策において薬剤経済学的評価を活用する流れはアジアにまで広がるに至っている。

わが国においては、政策決定における薬剤経済学の活用可能性はしばしば指摘されているものの、具体的な利用には至っていない。研究を誰がいつどのように実施し、結果をどのように評価するのか、また、研究の質をどのように確保するのか等、薬剤経済学の研究結果を薬価算定の場面で利用するためには、いくつかの課題に対応する必要がある。また、日本では薬価算定の際に薬剤経済学的評価資料の提出が必須ではなく、保険償還の可否といった意思決定等にも利用されていない。

そこで今回、薬価算定時の薬剤経済学的評価資料はどの程度提出されているのか、また各製薬企業における薬剤経済学的評価はどのように利用されているのかを調べるため、2つのアンケートを同時に実施した。

アンケート1：製薬企業における薬価算定時の薬剤経済学的評価の利用状況を調べた。対象は平成15年4月1日から平成20年4月18日までに薬価収載された新医薬品の承認申請を行った企業。坂巻らの調査[2] (平成9年から平成12年) および池田らの調査[3] (平成13年および平成14年) の継続調査という位置づけである。

アンケート2：各製薬企業が持つ専門組織を含めた薬剤経済学的評価の利用状況について調べる。対象は日本製薬工業協会 (製薬協) 加盟会社。

第1章 アンケート1（薬価算定時における薬剤経済学的評価資料の提出状況）

第1節 集計結果

各製薬企業が薬価算定時に薬剤経済学的評価資料（以下、資料）をどの程度活用しているかを明らかにすべく、平成15年4月1日から平成20年4月18日までに薬価収載された新医薬品の承認申請を行った企業68社を対象に、郵送によるアンケート調査を実施し、66社より回答が得られた。品目数では、調査対象171品目のうち168品目の回答を得た。

表1 背景

分析対象66社
分析対象168品目 ¹⁾ （155成分）
回答割合：98.2%（168/171品目） 97.1%（66/68社）

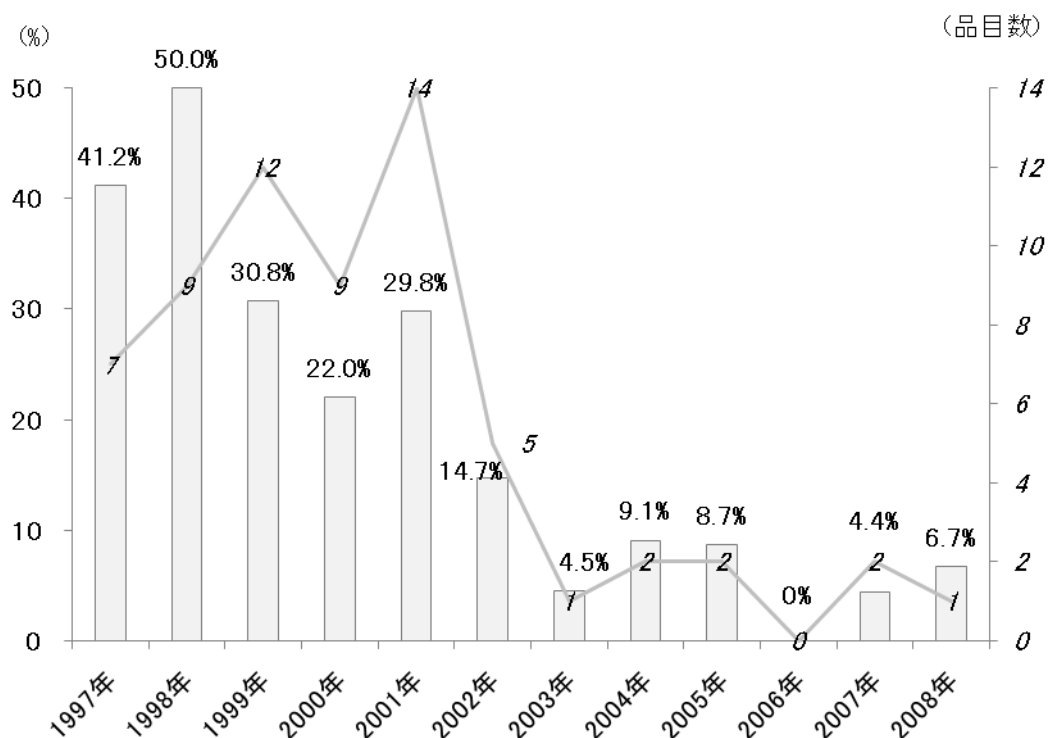
資料の提出状況についてみると（表2）、168品目中8品目（4.8%）が提出されていた。提出された品目数が少ないため、薬効分類、企業形態、剤型あるいは算定方式といった背景因子から特徴をみることができない。アンケート1は、坂巻らの調査（1997年から2000年）[2]および池田らの調査（2001年および2002年）[3]の継続調査という位置づけである。薬価算定時における薬剤経済学的評価資料の提出状況をみると、1997年は41.2%（7/17品目）、1998年は50.0%（9/18品目）、1999年は30.8%（12/39品目）、2000年は22.0%（9/41品目）という提出状況であり、2001年は29.8%（14/47品目）、2002年は14.7%（5/34品目）であった。今回調査では、2003年4.5%（1/22品目）、2004年9.1%（2/22品目）、2005年8.7%（2/23品目）、2006年0%（0/41品目）、2007年4.4%（2/45品目）、2008²⁾6.7%（1/15品目）であり、資料の提出数は0品目から2品目で推移していた（図1）。この5年あまりで資料の提出数は急速に減少し、提出状況は後退している。算定方式別に資料の提出状況をみると、類似薬効比較方式で算定された品目は4品目、原価計算方式で算定された品目においても4品目と同数であった。

-
- 1) 同一成分であっても剤型の違いから別々に薬価算定が行われたものは、それぞれ1品目として別々にカウントした。前回の池田らの調査[3]では、成分数として表示されている。
 - 2) 2000年は4月までのデータ

表2 薬剤経済学的評価資料の提出状況（2003年から2008年まで²⁾）

		品目数 ³⁾	提出あり	提出なし	提出ありの割合
総計		168	8	160	4.8%
企業形態	外資系	88	6	82	6.8%
	国内系	80	2	78	2.5%
剤型	経口	86	2	84	2.3%
	注射	59	4	55	6.8%
	外用	23	2	21	8.7%
算定方式	類似薬効比較方式Ⅰ	102	3	99	2.9%
	類似薬効比較方式Ⅱ	16	1	15	6.3%
	原価計算方式	39	4	35	10.3%

図1 薬剤経済学的評価資料の提出率および提出品目数の推移



3) 同一成分であっても剤型の違いから別々に薬価算定が行われたものは、別々にカウントした（168品目155成分）。

薬価算定時において薬剤経済学的評価資料を提出しなかったのは160品目であった。資料を添付しなかった理由を調べるため、薬剤経済学的分析を行っていたが資料を添付しなかった理由と薬剤経済学的分析は行わなかった理由に分けて質問を行った結果得られた回答が表3である。

薬剤経済学的分析を行っていたが資料を添付しなかった20品目の理由についてみると、「資料提出のメリットがないと考えたため」が18品目で「その他」が2品目である。その他の内容は、『提出時期までに間に合わなかった』、『データ不足により、明確なメリットを示しきれなかったため』であった。同様に、薬剤経済学的分析は行わなかった140品目の理由についてみると「分析を行うためのデータが不足していたため」が39品目、「社内に担当者がいなかったため」が38品目、「その他」が78品目であった。その他78品目のコメントをみると、『メリットがない』という内容のものが43品目と最も多く、『当局に評価されないあるいは提出を求められない』という内容のものが16品目、『必要性がない』という内容のものが11品目、『実施・評価困難』が6品目、『2番目の新薬のため』および『他剤型で既に薬剤経済学的分析を行っているため』がそれぞれ1品目であった。

前回の池田らの調査 [3] (以下前回調査) では、70品目中「資料提出のメリットがないと考えたため」が70%、「分析を行うためのデータが不足していたため」が43%、「社内に担当者がいなかったため」が11%であった。

表3 薬剤経済学的評価資料を提出しなかった理由

内容	品目数
1. 医療経済学的分析を行っていたが添付しなかった	20
資料提出のメリットがないと考えたため	18
その他	2
(その他の内訳)	
・提出時期までに間に合わなかった	1
・データ不足により、明確なメリットを示しきれなかったため	1
2. 医療経済学的分析は行わなかった	140
分析を行うためのデータが不足していたため	39
社内に担当者がいなかったため	38
その他	78
(その他の内訳)	
・メリットがない	43
・当局に評価されないあるいは提出を求められない	16
・必要性がない	11
・実施・評価が困難	6
・他剤型で既に医療経済学的分析を行っているため	1
・2番目の新薬のため	1

無回答:2、複数回答:14

薬剤経済学的評価資料のカテゴリーをみると（表4）、「既存の薬物療法がない」が4品目、「既存薬に比し、有効性に優れる」が3品目、「既存薬と同様」が1品目であり、「既存薬に比し、安全性に優れる」という回答はなかった。

前回調査では資料を提出した19成分のうち、「既存の薬物療法がない」が5品目、「既存薬に比し、有効性に優れる」が11品目、「既存薬に比し、安全性に優れる」と「既存薬と同様」が3品目であった（複数回答3）。

表4 薬剤経済学的評価資料のカテゴリー

内容	品目数
既存の薬物療法がない	4
既存薬に比し、有効性に優れる	3
既存薬に比し、安全性に優れる	0
既存薬と同様	1

無回答：0、複数回答：0

申請に際して提出した資料をみると（表5）、「要旨」が5品目、「分析の詳細を記したレポート」が1品目、「投稿論文（投稿中を含む）」が4品目、「その他」が2品目で、「海外での分析結果」はなかった。その他の内容は、『当時投稿中』と『学会発表のパワーポイントスライド資料』であった。

前回調査では、「要旨」が15品目、「分析の詳細を記したレポート」が6品目、「投稿論文」および「海外での分析結果」が2品目であった（複数回答4）。

表5 申請に際して提出した資料

内容	品目数
要旨	5
分析の詳細を記したレポート	1
投稿論文（投稿中を含む）	4
海外での分析結果	0
その他	2
（その他の内訳）	
・当時投稿中	1
・学会発表のパワーポイントスライド資料	1

無回答：0、複数回答：3

分析手法をみると（表6）、「単一の非金銭的効果尺度を用いて、費用/効果分析（CEA）を実施」が5品目、「効果尺度として質調整生存年（QALY）を用いて費用/効用分析（CUA）を実施」が2品目、「効果については検討せず、比較対照との費用比較を実施」と「その他（比較対照との費用比較）」が1品目であった。

前回調査でも、「単一の非金銭的効果尺度を用いて、費用/効果分析（CEA）を実施」が9品目と最も多かった。

表6 分析手法

内容	品目数
対照薬と効果の差がないという前提で、費用最小化分析（CMA）を実施	0
複数の効果尺度を列挙して、費用・結果分析（CCA）を実施	0
単一の非金銭的効果尺度を用いて、費用/効果分析（CEA）を実施	5
効果尺度として質調整生存年（QALY）を用いて費用/効用分析（CUA）を実施	2
効果尺度として金銭的価値を用いて費用/便益分析（CBA）を実施	0
効果については検討せず、比較対照との費用比較を実施	1
比較対照とおかず、当該薬物療法の費用算出を実施	0
その他 ・比較対照との費用比較	1

無回答；0、複数回答；1

さらに、費用/効果分析（CEA）の効果指標をみたのが表7である。「生存年」が2品目、「治療までの期間」が1品目、「入院日数」が1品目、「QOL」が1品目、「その他」が2品目であった。その他の内容は、『生存率および急性増悪発生率』および『増悪時の重症確率』であった。

前回調査では、「治験のエンドポイントと同一」が6品目と最も多かった。ただし、分析手法として「費用/効果分析」を選択していないにも拘わらず「費用/効果分析の評価指標」について回答した成分が4品目あり、回答の不整合があった。

表7 費用/効果分析（CEA）の効果指標

内容	品目数
生存年	2
治療までの期間	1
入院日数	1
QOL	1
治験のエンドポイントと同一	0
その他	2
（その他の内訳）	
・ 生存率および急性増悪発生率	1
・ 増悪時の重症確率	1

無回答； 2、複数回答； 1

費用/便益分析（CBA）の便益算出は使用されていなかった。

分析における比較対照は、「薬物治療」が4品目、「その他」が3品目、「プラセボ」、「無治療」が2品目、「手術などの非薬物療法」が1品目である。その他の内容は、『予防的投与の有無』、『併用療法の有無』、『禁煙指導のみを行う治療法』であった（表8-1）。

前回調査では、分析における比較対照として「臨床試験における対照薬」が8品目と最も多かった。「手術などの非薬物療法」を選択したのも1品目あった。

表8-1 分析における比較対照

内容	品目数
薬物治療	4
手術などの非薬物療法	1
プラセボ	2
無治療	2
その他	3
（その他の内訳）	
・予防的投与の有無	1
・併用療法の有無	1
・禁煙指導のみを行う治療法	1

無回答；0、複数回答；4

さらに、比較対象薬についてみたのが表8-2である。「臨床試験における対照薬」が4品目、「薬価算定における比較薬」が2品目、「原価計算方式のため比較対照薬はない」が1品目であった。

表8-2 比較対照薬

内容	品目数
臨床試験における対照薬	4
薬価算定における比較薬	2
原価計算方式のため比較対照薬はない	1

無回答：0、複数回答：1

分析の立場としては、「支払者」が6品目、「社会全体」が2品目、「その他（患者一人あたり）」が1品目であった（表9）。

前回調査では、「支払者」が16品目であった。その内2品目が「社会全体」および「支払者」の両方を選択していた。「社会全体」は2品目で、「その他」はなかった。

表9 分析の立場

内容	品目数
社会全体	2
支払者	6
その他 ・患者一人あたり	1

無回答：0、複数回答：1

費用の範囲をみると（表10）、「医療費」が8品目と最も多く、「医療費以外に発生する費用」および「労働損失（生産性費用・間接費用）」がそれぞれ1品目であった。

前回調査では、費用の範囲として18品目が「医療費」を含んでいた。医療費を含んでいない1品目は、「労働損失（生産性費用・間接費用）」のみを選択していた。

表10 費用の範囲

内容	品目数
医療費	8
医療費以外に発生する費用	1
労働損失（生産性費用・間接費用）	1
その他	0

無回答：0、複数回答：2

医療費の算出方法は、「薬価や診療報酬点数を用いて請求額ベースで算出」が8品目で、「医療従事者の人件費や購入価格を原価ベースで算出」はなかった。「その他（参考文献による引用）」が1品目であった（表11）。

前回調査でも、13品目が「薬価や診療報酬点数を用いて請求額ベースで算出」で最も多かった。

表11 医療費の算出方法

内容	品目数
薬価や診療報酬点数を用いて「請求額ベース」で算出	8
医療従事者の人件費や購入価格を「原価ベース」で算出	0
その他 ・参考文献による引用	1

無回答：0、複数回答：1

分析における時間軸をみると、「生涯」、「1年間」および「2週間」がそれぞれ2品目、「2年間」および「複数の介入時～90才まで」がそれぞれ1品目で、「臨床における観察期間」はなかった（表12）。

前回調査では、「臨床における観察期間」が7品目で最も多く、薬剤によりさまざまな期間が用いられていた。

表12 分析における時間軸

内容	品目数
臨床における観察期間	0
生涯	2
1年間	2
その他 (その他の内訳)	4
・2週間	2
・2年間	1
・複数の介入時～90才まで	1

無回答：0、複数回答：0

分析に用いたデータは（表13）、「当該治験論文からの引用」が7品目、「公的統計」が6品目、「医師や専門家の意見・推計値」が4品目、「公表された論文（当該治験以外）」および「大学等から提供された未公表資料や社内データ」がそれぞれ3品目、「レセプト（当該治験患者以外）」が2品目、「当該治験に参加した患者のレセプト」が1品目であった。「当該治験における個票（ケースカード）のデータ」、「当該治験に参加した患者のカルテ」および「商業データベース」はなかった。

前回調査では、12品目が「公表された論文（当該治験以外）」を利用していたほか、回答は多岐にわたっていた。「当該治験における個票（ケースカード）のデータ」は8品目が利用、「当該治験に参加した患者のレセプト」は3品目、「当該治験に参加した患者のカルテ」は1品目がそれぞれ利用していた。

表13 分析に用いたデータ

内容	品目数
当該治験論文からの引用	7
当該治験における個票（ケースカード）のデータ	0
当該治験に参加した患者のレセプト	1
当該治験に参加した患者のカルテ	0
公表された論文（当該治験以外）	3
レセプト（当該治験患者以外）	2
カルテ（当該治験患者以外）	0
大学等から提供された未公表資料や社内データ	3
商業データベース	0
医師や専門家の意見・推計値	4
公的統計	6
その他	0

無回答；0、複数回答；7

使用したQOL (Quality of Life) 尺度としては、「VAS」が1品目で、「その他」が2品目であった。その他の内容は、『海外の文献から引用』および『HAQ』であった(表14)。

前回調査では、「QWB」が1品目あったが、「QWB」は日本語版が開発されていないことから、海外における測定結果をそのまま利用したものと考えられた。

表14 使用したQOL尺度

内容	品目数
1. SF-36 ⁴⁾	0
2. EQ-5D ⁵⁾	0
3. HUI ⁶⁾	0
4. QWB ⁷⁾	0
5. TTO ⁸⁾	0
6. SG ⁹⁾	0
7. VAS ¹⁰⁾	1
8. その他 (その他の内訳)	2
・海外の文献から引用	1
・HAQ	1

無回答; 5、複数回答; 0

-
- 4) MOS Short-Form 36-Item Health Survey ; プロファイル (複数の次元で健康状態を表す) 型の尺度。健康に関連した生活の質 (HRQOL) を測定するための、信頼性および妥当性が検証された尺度。米国で作成され、概念構築の段階から心理計量学的な検定に至るまで十分な検討を経て、現在数十か国語以上に翻訳され国際的に使用されている代表的な包括的QOL尺度。
- 5) EuroQol ; プロファイル型の尺度。健康状態を5つの項目 (5次元、3段階) に分けて評価する方法。得られた回答を換算表により効用値に換算し、その値は間隔尺度として用いることができる。日本の換算表もある。
- 6) Health Utilities Index ; プロファイル型の尺度。EQ-5Dと同様に、効用値を推定するためQOLを単一指標で測定・表現する尺度。
- 7) Quality of Well-Being (Scale) ; 1を完全な健康状態、0を死亡として、1から疾病、日常生活動作および社会的活動の重みを引き、スケール化したもの。
- 8) Time Trade Off ; インデックス型の尺度。個人の好みによるQOLの算出方法で、現在の健康状態 (罹患状態) での余命年と完全な健康状態で生きる何年と交換するかという、QOLと生存時間を比較する概念をスコア化するもの。
- 9) Standard Gamble ; インデックス型の尺度で、TTOと同様に直接的な方法。例えば、被検者に完全に健康か、死亡しているかの二者択一を選択させ、完全な健康状態が得られる確率 p および死亡する確率 $1-p$ を効用値とする方法。一般的にSGの方がTTOより高い値になるといわれている。
- 10) Visual Analogue Scale ; インデックス型の尺度。視覚尺度の一つで、健康状態を直線上に付けられた位置で評価する、即時に判定可能な極めて簡便な方法

モデリングについてみると、「マルコフモデル」が5品目、「判断樹モデル」が3品目、「モンテカルロシミュレーション」が2品目であった。モデリングを使用しなかった品目はなかった（表15）。

前回調査では、「判断樹モデル」が9品目、「マルコフモデル」が5品目であった。

表15 モデリング

内容	品目数
マルコフモデル	5
判断樹モデル	3
モンテカルロシミュレーション	2
モデリングを使用せず	0
その他	0

無回答：0、複数回答：2

割引率については、3品目が使用されており、5品目は割引されていなかった（表16）。割引された品目の割引率は、年率3%が2品目で6%が1品目であった。

前回調査では、割引率として6品目で計算がされており、年率1%から5%までバラツキがあった。

表16 割引率

内容	品目数
割引あり	3
割引なし	5

無回答：0、複数回答：0

不確実性の取扱いについてみると（表17）、分析的手法を用いたのが7品目で、分析的手法を用いなかったのは1品目であった。さらに、分析的手法を用いた7品目の内訳をみると、「Probabilistic Sensitivity Analysis (PSA) あるいは Systematic Sensitivity Analysis (SSA)」が3品目、「95%信頼区間」が1品目、「その他」が4品目であった。「散布度」、「信頼楕円」および「費用効果における需要曲線を用いた分析」はなかった。その他の内容としては、『入院率、救急外来受診率などを変化させた一元感度分析』、『複数の因子を同時に検討するTornado分析により評価』、『cost driver による一元感度分析のみ』、『一方向感度分析及び二方向感度分析』であった。

表17 不確実性の取扱い

内容	品目数
分析的手法を用いなかった	1
分析的手法を用いた	7
1. 散布度	0
2. 95%信頼区間	1
3. 信頼楕円	0
4. 費用効果における需要曲線を用いた分析	0
5. Probabilistic Sensitivity Analysis (PSA) あるいは Systematic Sensitivity Analysis (SSA)	3
6. その他	4

無回答; 0、複数回答; 0

分析結果の表示については、「増分費用/効果比」が6品目、「費用削減額」が3品目、「費用及び複数の効果指標を列挙 (cost-consequences)」が2品目であった（表18）。「平均費用/効果比」は使用されていなかった。

前回調査では、「費用削減額」が11品目と最も多かった。

表18 分析結果の表示

内容	品目数
費用削減額	3
平均費用/効果比	0
増分費用/効果比	6
費用及び複数の効果指標を列挙 (cost-consequences)	2
その他	0

無回答; 0、複数回答; 2

分析結果をみてみると（表19）、「比較対照に比べて費用削減」が4品目、「比較対照に比べて費用は増加するものの費用対効果は優れている」が3品目、「その他」が2品目であった。当然のことながら「比較対照に比べて費用は増加し、費用対効果は悪い」という回答はなかった。その他の内容は、『成人は費用対効果が悪いが小児は優れている』、『比較票に比べて薬剤費削減かつ費用対効果が優れている』というものであった。

前回調査では、「比較対照に比べて費用削減」が14品目、「比較対照に比べて費用はするものの、費用対効果は優れている」は5品目であった。

表19 分析結果

内容	品目数
比較対照に比べて費用削減	4
比較対照と費用は同等	0
比較対照に比べて費用は増加するものの費用対効果は優れている	3
比較対照に比べて費用は増加し、費用対効果は悪い。	0
その他	2
（その他の内訳）	
・成人は費用対効果が悪いが小児は優れている	1
・比較票に比べて薬剤費削減かつ費用対効果が優れている	1

無回答：0、複数回答：1

分析実施者としては、「大学等研究者への委託減」が6品目、「社内」が2品目、「受託会社への外注」が1品目で、「海外研究の翻訳」はなかった（表20）。

前回調査では、「社内」が11品目と最も多かった。複数回答としては、「社内」および「大学等研究者への委託」が3品目、「大学等研究者への委託」および「受託会社への外注」が1品目であった。

表20 分析実施者

内容	品目数
社内	2
大学等研究者への委託	6
受託会社への外注	1
海外研究の翻訳	0

無回答：0、複数回答：1

分析方法（評価のデザイン、モデル等）の開発をみると（表21）、「当該品目用に独自で開発したオリジナル」が5品目、「当該品目の海外先行研究を参考にした」が3品目で、「自社の他製品の分析を参考にした」はなかった。

表21 分析方法（評価のデザイン、モデル等）の開発

内容	品目数
当該品目用に独自で開発したオリジナル	5
当該品目の海外先行研究を参考にした	3
自社の他製品の分析を参考にした	0

無回答：0、複数回答：0

薬剤経済学的評価実施の決定時期は、「P-II開始前」が1品目、「P-III実施中」が3品目で、「製造承認取得前」が4品目であった。「P-III開始前」および「製造承認取得後」なかった（表22）。

表22 薬剤経済学的評価実施の決定時期

内容	品目数
P-II開始前	1
P-III開始前	0
P-III実施中	3
製造承認取得前	4
製造承認取得後	0

無回答：0、複数回答：0

データ収集時期は、「P-III実施中」が1品目、「製造承認取得前」が7品目であった。「P-II開始前」、「P-III開始前」および「製造承認取得後」なかった（表23）。

表23 データ収集時期

内容	品目数
P-II開始前	0
P-III開始前	0
P-III実施中	1
製造承認取得前	7
製造承認取得後	0

無回答：0、複数回答：0

分析に着手した時期は、「P-Ⅲ実施中」が1品目、「製造承認取得前」が5品目、「製造承認取得後」が2品目であった。「P-Ⅱ開始前」および「P-Ⅲ開始前」はなかった（表24）。
 前回調査でも、「製造承認取得前」が14品目と最も多かった。

表24 分析に着手した時期

内容	品目数
P-Ⅱ開始前	0
P-Ⅲ開始前	0
P-Ⅲ実施中	1
製造承認取得前	5
製造承認取得後	2

無回答：0、複数回答：0

研究結果の公表についてみたのが表25である。「論文として公表した」および「学会発表を行った」がそれぞれ3品目、「公表予定なし」が2品目、「投稿中」および「論文として公表予定」がそれぞれ1品目であった。「学会発表予定」はなかった。公表予定がない理由は、2品目とも『公表する必要がない』というものであった。

前回調査では、「公表（予定含む）」が合わせて13品目、「公表予定なし」が6品目であった。「公表予定なし」の理由としては、「公表する必要がない」が3品目、「その他」が3品目であった。

表25 研究結果の公表

内容	品目数
論文として公表した	3
投稿中	1
論文として公表予定	1
学会発表を行った	3
学会発表予定	0
公表予定なし	2

無回答：0、複数回答：2

分析実施上の問題点についてみる（表26）。「極めて問題」と「やや問題」とされた回答の合計でみると、「病気の自然経過や患者数などの疫学データが限られている」が7品目と最も多い。次が「国内に研究ガイドラインがない」の6品目であった。以下、「社内体制が整っていない」および「費用データの入手が困難」がそれぞれ4品目、「臨床試験データでは効果や予後のデータが不十分」、「臨床試験ではQOLの計測が困難」および「GCPとの関係で臨床試験における経済的データの収集が困難」がそれぞれ3品目、「臨床試験に用いた対照薬と薬価算定時に用いた対照薬が異なる」が2品目、「相談できる専門の研究者が少ない」が1品目、「臨床医の協力が得られない」および「対照薬提供会社との契約の関係で分析が困難」はなかった。

前回調査では、「極めて問題」と回答されたもののうち、「病気の自然経過や患者数などの疫学データが限られている」が9品目、「臨床試験データでは効果や予後のデータが不十分」が8品目、「国内に研究ガイドラインがない」と「費用データの入手が困難」が7品目であった。

表26 分析実施上の問題点

内容	極めて問題	やや問題	合計
国内に研究ガイドラインがない	5	1	6
病気の自然経過や患者数などの疫学データが限られている	6	1	7
相談できる専門の研究者が少ない	1	0	1
社内体制が整っていない	3	1	4
臨床試験データでは効果や予後のデータが不十分	2	1	3
臨床試験ではQOLの計測が困難	1	2	3
費用データの入手が困難	3	1	4
臨床医の協力が得られない	0	0	0
GCPとの関係で臨床試験における経済的データの収集が困難	1	2	3
対照薬提供会社との契約の関係で分析が困難	0	0	0
臨床試験に用いた対照薬と、薬価算定時に用いた対照薬が異なる	0	2	2
その他	0	0	0

無回答；0、複数回答；8

当局からのコメントに関しては、「全くコメントはなかった」が6品目、「分析内容についての質問やコメントがあった」が2品目で、「資料の提出を要請された」はなかった（表27）。

前回調査では、「全くコメントはなかった」が15品目、「資料の提出を要請された」が2品目あった。

表27 当局からのコメント

内容	品目数
資料の提出を要請された	0
分析内容についての質問やコメントがあった	2
全くコメントはなかった	6
その他	0

無回答：0、複数回答：0

薬価交渉への影響を尋ねたのが表28である。得られた回答のすべてが「何ら影響しなかった」であった。

前回調査では、「何ら影響しなかった」が15品目、「不明」が3品目、「プラスに作用した」が1品目あった。

表28 薬価交渉への影響

内容	品目数
プラスに作用した	0
マイナスに作用した	0
何ら影響しなかった	8
不明	0

無回答：0、複数回答：0

第2節 公表論文のレビュー

第1節にて示したアンケート1の対象168品目について、国内外の学術雑誌に公表された薬剤経済学研究論文を収集し、薬価算定に参考となるデータが提示されているか否かを検討した。168品目のうち、国内の薬剤経済学研究論文を収集し得たのは、オルメサルタン、OC-108（硫酸アルミニウムカリウム水和物、タンニン酸）、チオトロピウム、リセドロネートの4品目であった。以下に、薬剤経済学研究論文の検討結果を記す。

(1) オルメサルタン

「齊藤 郁夫、小林 慎、猿田 享男. 本態性高血圧症患者に対する降圧薬治療の薬剤経済分析. 臨床医薬 2003;19(7):777-788」

アンジオテンシンⅡ（AⅡ）受容体拮抗薬間の費用対効果について検討するため、米国において実施された二重盲検群間比較試験結果を基に、本態性高血圧症患者に対するオルメサルタン、ロサルタン、バルサルタンの治療の費用対効果を比較した。マルコフモデルを用いたシミュレーションにより分析を行っている。また、分析結果の頑健性を確認するために感度分析も実施している。20年分析では、男性の場合では期待費用（5.8万円～29.6万円減少）も期待生存年（0.036年～0.059年延長）もオルメサルタンは他剤より優位（dominant）であった。女性の場合では他剤に比べ期待生存年（0.025年～0.039年延長）が延長した。生涯分析では、男女ともに期待費用（男性；19.7万円～65.6万円減少、女性；14.6万円～71.6万円減少）と期待生存年（男性；0.087年～0.186年延長、女性；0.090年～0.215年延長）のいずれもオルメサルタンは他剤より優位であった。

(2) OC-108（硫酸アルミニウムカリウム水和物、タンニン酸）

「坂巻 弘之、池田 俊也、池上 直己. 内痔核治療に対するOC-108の薬剤経済的研究. 医療と社会 2004;14(2):71-84」

重度の内痔核患者を対象に、OC-108と手術を比較し経済評価を実施。臨床試験成績と再発調査結果をもとに、判断分析モデル、マルコフモデルを用いた分析を行った。医療費推計のために、痔疾専門医療機関2施設における代表的と思われる内痔核症例のレセプト18例分を肛門科専門医師が抽出している。再発モデルでは、OC-108群は手術群と比較して2年間で5万1千円の費用削減になり、また初期治療と再発モデルを合わせてOC-108群と手術群を比較すると、手術からOC-108に置き換えることによって4.5日入院期間が短縮するとの結果であった。

(3) チオトロピウム

「西村 周三、小林 慎. 日本におけるCOPD（慢性閉塞性肺疾患）医療費とチオトロピウムの費用対効果. Pharma Medica 2005;23(3):165-173」

COPD（慢性閉塞性肺疾患）に対する、チオトロピウム、イプラトロピウム、サルメテロ

ール、通常治療の4つの費用対効果を比較した。オランダにおいて開発されたモデル（オランダでの治験データが基）を採用し、重症度に関しては本邦で行われた NICE (Nippon COPD Epidemiology) スタディに基づく数値を当てはめ、日本における医療費額をマルコフモデルにより推計を行った。12ヵ月間の費用で、チオトロピウム55.9万円、イプラトピウム77.1万円、サルメテロール61.3万円、通常治療62.1万円とチオトロピウムによる治療が最も費用が小さかった。感度分析でもチオトロピウム治療による医療費が最も少ない結果であった。

(4) リセドロネート

「Hansheng Ding, Nobuo Koinuma, Matt Stevenson, Michiya Ito, Yasutake Monma. The cost-effectiveness of risedronate treatment in Japanese women with osteoporosis. J Bone Miner Metab 2008;26:34-41」

BMDスキャンにより骨粗鬆症と診断された55歳以上の日本人女性を対象とし、リセドロネートの費用対効果を検討した。QALY (Quality-Adjusted Life Year ; 質調整生存年) を用い薬剤の経済的価値を分析している点が前述の3報の論文と異なる。閾値を1QALY当たりUS\$100,000と設定した場合、投与開始前2年の間に椎骨骨折した75歳以上の女性への費用対効果が良かった。しかし、75歳以上の女性でも投与開始前2年の間に椎骨骨折がない場合と70歳未満の女性では費用対効果は良くないと結論されている。

今回収集された4論文の品目について、薬価算定の際に医療経済学的評価資料が提出されていたとは限らず、また、資料が提出されていたとしても今回収集された論文そのものが提出されていたとは限らない。しかし、今回試みに、薬価算定に利用できるか否かという視点で論文の内容を吟味したところ、いくつかの課題が明らかとなった。例えば、分析期間 (time horizon) がさまざまであること、国内のデータと国外のデータを組み合わせて使用していること、効用値 (QOLウェイト) 設定の妥当性が十分に検証されていないこと、分析の前提条件や臨床経過のモデルについての妥当性が不明であること等の課題があり、これらの分析結果をそのまま薬価算定に使用することは難しいと思われた。医療経済学的評価資料を薬価算定等の政策決定に活用するためには、経済評価ガイドラインを策定し分析方法の標準化を図るとともに、提出資料で使用された前提条件や臨床経過のモデルについて批判的吟味を行い、結果の信頼性および妥当性の確認を行う必要がある。例えば、米国AMCP (Academy of Managed Care Pharmacy : マネジドケア薬局協会) が新薬のフォーミュラリ収載に際し企業から薬剤経済分析用のスプレッドシートファイルを要求しているケースのように、わが国においても企業が提出した分析結果を第三者的な立場の者が再解析を行うという方法も検討に値すると考える。

第2章 アンケート2（各製薬企業が持つ専門組織を含めた薬剤経済学的評価の利用状況）

各製薬企業が持つ専門組織を含めた薬剤経済学的評価の利用状況を調べる目的で、日本製薬工業協会（製薬協）加盟会社71社を対象に郵送によるアンケート調査を実施した。その結果70社より回答が得られた（表29）。なお、本アンケート2では薬剤経済学よりも広い範囲を対象とするため医療経済学と表現している。

表29 背景

製薬協加盟71社中70社（国内企業50社、外国企業20社）から回答
回答割合：98.6%（70/71社）

第1節 医療経済学的評価を専門に行う組織

日本法人に医療経済学的評価を専門に行う組織（アウトカムリサーチを含む）があるかを尋ねた結果が表30である。「専門に行う組織がある」と回答した企業は5社（7.1%）であった。その5社全てが外国企業でかつ売上上位企業¹¹⁾である。専任者の人数は1名から5名であった。

「専門に行う組織はないが、マーケティング部門、開発部門等に医療経済学的評価を行う担当者はいる」と回答した企業は16社（22.9%）で、国内企業と外国企業に分けてみると、国内企業10社および外国企業6社であった。その人数は、国内企業が1名から15名、外国企業が1名から2名である。売上上位企業でみると、16社中、売上上位国内企業¹²⁾が3社で、売上上位外国企業は4社であった。

「医療経済学的評価を専門に行う組織もなく担当者もいない」と回答した企業は49（70.0%）であった。その内訳は、国内企業40社および外国企業9社である。売上上位企業でみると、49社中、売上上位国内企業が7社で、売上上位外国企業は7社であった。さらに、今後社内体制の強化（専門の組織や担当者の配置）を行う予定についてみると、「予定がある」が5社、「予定がない」が11社、「不明」が32社となる。

11) 2007年医薬品事業世界売上高上位の米国企業8社（Pfizer, Merck & Co, Abbott, Eli Lilly, Wyeth, Bristol - Myers Squibb, Schering Plough, Mylan）および欧州企業8社（GlaxoSmithKline, Novartis, Sanofi - aventis, AstraZeneca, Roche, Bayer, Boehringer Ingelheim, Novo Nordisk）

12) 2007年医薬品事業世界売上高上位の日本企業10社（武田、アステラス、第一三共、エーザイ、大塚、田辺三菱、大日本住友、塩野義、小野、興和）

表30 日本における医療経済学的評価を専門に行う組織（アウトカムリサーチを含む）

	合計 N=70	国内 企業 N=50	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
専門に行う組織がある	5 (7.1%)	0	5	0	5
専門に行う組織はないが、マーケティング部門、開発部門等に医療経済学的評価を行う担当者はいる	16 (22.9%)	10	6	3	4
医療経済学的評価を専門に行う組織もなく担当者もいない	49 (70.0%)	40	9	7	7
(国内組織もなく担当者もいないと回答した49社の今後の予定)					
今後社内体制の強化（専門の組織や担当者の配置）を行う予定が					
(1) ある	5	4	1	0	1
(2) ない	11	9	2	1	2
(3) 不明	32	26	6	5	4
(4) 無回答	1	1	0	1	0

無回答；0、複数回答；0

海外に（日本企業の場合には海外関連会社、外国企業の場合には本社および関連会社）医療経済学的評価を専門に行う組織（アウトカムリサーチを含む）があるかを尋ねた結果が表31である。「専門に行う組織がある」と回答した企業が21社（30.0%）で、「海外に医療経済学的評価を専門に行う組織はない」と回答した企業が49社（70.0%）であった。「専門に行う組織がある」と回答した21社の内訳をみると、国内企業4社および外国企業17社であった。その人数は、国内企業が3名から7名、外国企業は数名から約160名までと幅広い。

表31 医療経済学的評価を専門に行う海外の組織（アウトカムリサーチを含む）

	合計 N=70	国内 企業 N=50	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
専門に行う組織がある	21 (30.0%)	4	17	4	14
海外に医療経済学的評価を専門に行う組織はない	49 (70.0%)	46	3	6	2

無回答；0、複数回答；0

表32は、PRO (Patient Reported Outcomes) ガイダンス¹³⁾への対応状況を尋ねたものである。「検討も実施もしていない」と回答した企業が44社(63.8%)で、「実施している」および「検討しているが、実施していない」と回答した企業がそれぞれ5社(7.2%)、「不明」は15社(21.7%)であった。

表 32 PRO ガイダンスへの対応状況

	合計 N=69	国内 企業 N=50	外国 企業 N=19	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=15
実施している	5 (7.2%)	3	2	2	1
検討しているが、実施していない	5 (7.2%)	1	4	0	3
検討も実施もしていない	44 (63.8%)	36	8	5	6
不明	15 (21.7%)	10	5	3	5

無回答; 1、複数回答; 0

13) FDAにより2006年2月に出されたガイダンス「患者報告アウトカム」(ドラフト)。医療における効果を患者の視点・立場から評価するもので、臨床試験において患者から直接集められたアンケートの結果に基づく。

第2節 日本における研究開発の意思決定への医療経済学的評価の利用状況

医療経済学的評価の活用は、新薬の承認申請あるいは薬価収載時での利用だけに限らない。研究開発時の意思決定での利用あるいはマーケティング時での利用等も考えられる。そこで、日本における研究開発の意思決定への医療経済学的評価（費用対効果等）の利用状況をみたのが表33である。「研究開発では医療経済学的評価を利用していない」と回答した企業が50社(71.4%)、「研究開発で医療経済学的評価を利用している」と回答した企業が20社(28.6%)であった。20社中国内企業は18社、外国企業は2社であった。プロジェクトのgo/no goの判断に用いる企業が16社、ライセンスイン/アウト（導入/導出）の判断に際し用いる企業が11社、その他が3社である（重複回答あり）。自社における想定薬価算出のために医療経済学的評価（費用対効果等）を利用している企業は6社で、国内企業が5社、外国企業が1社であった。研究開発では医療経済学的評価を利用しないと回答した企業のコメントをみると、「手法が確立していない」、「専門的組織や担当者がいない」あるいは「知識・ノウハウの不足」といった『実施・評価が困難』というもの、「研究開発の意思決定に必要と考えていない」「用途がない」といった『必要性がない』というものの他、『研究開発の意思決定に利用するには時期尚早』、『親会社が開発の意思決定を行っている』、『研究開発期間が長期化する可能性があるため』等があった。

表 33 日本における研究開発の意思決定への医療経済学的評価（費用対効果等）利用状況

	合計 N=70	国内 企業 N=50	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
研究開発では医療経済学的評価を利用していない	50 (71.4%)	32	18	6	14
利用している	20 (28.6%)	18	2	4	2
(内訳)					
i. プロジェクトの go/no go の判断	16	15	1	3	1
ii. ライセンスイン/アウト（導入/導出）の判断	11	11	0	3	0
iii. その他*)	3	2	1	1	1
医療経済学的評価（費用対効果等）の自社における想定薬価算出					
i. 使っていない	14	13	1	4	1
ii. 使っている	6	5	1	0	1
ア. 日本で独自に分析した	6	5	1	0	1
イ. 海外での分析結果をそのまま使用した	0	0	0	0	0
ウ. 海外での分析結果の一部を使用した	0	0	0	0	0
エ. その他	0	0	0	0	0

無回答；0、複数回答；0

*)その他の内容：意思決定の主ではないが、経済学的評価も考慮はしている
薬剤の臨床研究結果のひとつとして
自社における想定薬価の算出

第3節 薬価交渉時の医療経済学的分析結果の提出状況

表 34 は、薬価交渉時の医療経済学的分析結果の提出についての質問で、「提出しなかった」と回答した企業が 62 社(89.9%)、「提出した」と回答した企業が 7 社(10.1%)であった。提出したと答えた企業は国内企業海外企業ともに売上上位企業で、国内企業は 2 社および外国企業は 5 社であった。

表 34 薬価交渉時の医療経済学的分析結果提出

	合計 N=69	国内 企業 N=50	外国 企業 N=19	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
提出した	7 (10.1%)	2	5	2	5
提出しなかった	62 (89.9%)	48	14	8	11

無回答; 1、複数回答; 0

第4節 マーケティングにおける医療経済学的評価の利用状況

マーケティングにおける医療経済学的評価（費用対効果等）の利用についての回答をみているのが表35である。「医療経済学的評価を利用していない」と答えた企業が43社(62.3%)、「医療経済学的評価を利用している」と答えた企業が26社(37.7%)であった。医療経済学的評価を利用している企業にその効果を尋ねた内訳をみると、「効果がある」は7社、「どちらでもない」は17社、「効果はない」は1社である。

医療経済学的評価を利用していないと回答した43社の主要なコメントをみると、「プロモーションに利用することは一般的ではない」「医療現場から求められていない」といった『必要性がない』というもの、「専門的組織や担当者がいない」、「分析方法が確立していない」、あるいは「ノウハウの不足」といった『実施・評価が困難』というものから、『効果的でない・効果不明』、『親会社が開発の意思決定を行っている』、『自社で販売していない』、『有効性・安全性を優先』、『費用がかかる』、『情報提供のガイドラインが不明確』等種々のコメントがあげられる。

表 35 マーケティングにおける医療経済学的評価（費用対効果等）の利用

	合計 N=69	国内 企業 N=49	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=9	売上上 位外国 企業 N=16
医療経済学的評価を利用していない	43 (62.3%)	32	11	5	8
医療経済学的評価を利用している	26 (37.7%)	17	9	4	8
(内訳)					
(1) 効果がある	7	5	2	1	2
(2) どちらでもない	17	12	5	3	4
(3) 効果はない	1	0	1	0	1
(4) 無回答	1	1	0	1	0

無回答：1、複数回答：0

第5節 薬価再算定での医療経済学的評価の使用経験

薬価再算定での医療経済学的評価の使用経験については、全70社が「再算定での使用経験はない」と回答している（表36）。

表36 薬価再算定での医療経済学的評価の使用経験

	合計 N=70	国内 企業 N=50	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
再算定での使用経験はない	70(100%)	50	20	10	16
使用経験あり	0(0%)	0	0	0	0

無回答；0、複数回答；0

第6節 今後の医療経済学的評価の利用

最後に、今後の医療経済学的評価の利用に関する質問についてみると、「現在は医療経済学的評価を利用していないが今後は活用する予定である」と回答した企業が33社(48.5%)、「医療経済学的評価を利用しない」と回答した企業が21社(30.9%)、「すでに医療経済学的評価を利用しており今後も活用する予定である」と回答した企業が14社(20.6%)であった(表37)。医療経済学的評価を利用しないと回答した企業のコメントをみると、『メリットがない』という内容を回答した企業が9社、『実施・評価が困難』が4社、『必要性がない』が3社、『不明』および無回答が5社であった。

今後何らかのかたちで活用する意向である「すでに利用しており今後も活用する予定である」と「現在は利用していないが今後は活用する予定である」を合わせると47社(69.1%)となり、薬剤経済学的評価利用に対し前向きな姿勢がうかがえる。

表 37 今後の医療経済学的評価の利用

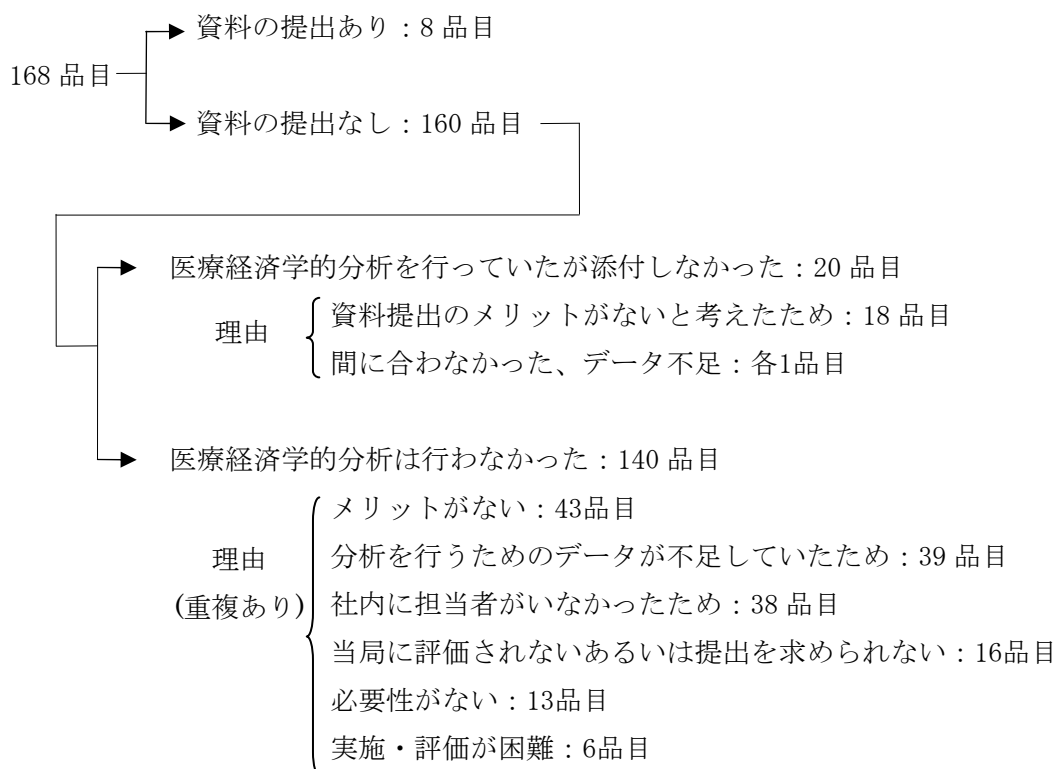
	合計 N=68	国内 企業 N=48	外国 企業 N=20	売上上 位国内 企業 N=10	売上上 位外国 企業 N=16
医療経済学的評価を利用しない	21 (30.9%)	15	6	4	6
すでに医療経済学的評価を利用しており今後も活用する予定である	14 (20.6%)	6	8	2	8
現在は医療経済学的評価を利用していないが今後は活用する予定である	33 (48.5%)	27	6	4	2

無回答; 2、複数回答; 0

第3章 考察

平成15年4月1日から平成20年4月18日までに薬価収載された新医薬品168品目のうち薬価申請に際し薬剤経済学的評価資料（以下資料）が提出されたのは、8品目（4.8%）と非常に少なく、この5年あまりで資料の提出率は急激に減少した。資料提出状況は後退しているといえる（アンケート1）。資料を提出しなかった160品目の内訳は、薬剤経済学的分析を行っていたが資料を添付しなかった（20品目）というものと、そもそも薬剤経済学的分析は行わなかった（140品目）という2つに大別される。さらに詳しくみると、薬剤経済学的分析を行っていたが資料を添付しなかった理由の大部分は、「資料提出のメリットがないと考えたため」というものであった。同様に薬剤経済学的分析を行わなかった理由は、「その他」についての回答コメントを内容で分けると、「メリットがない」43品目、「分析を行うためのデータが不足していたため」39品目、「社内に担当者がいなかったため」38品目、「当局に評価されないあるいは提出を求められない」16品目、「必要性がない」13品目、「実施・評価困難」6品目という順で続く。すなわち、資料の提出を行わない理由として『資料を提出してもメリットがない』という内容の回答が61品目と最も多くなる。さらに「当局に評価されない」および「必要性がない」も加えると90品目になる。現状では薬剤経済学的評価資料を提出してもあまり薬価に反映されないことを指していると推測される。

図2 薬剤経済学的評価資料を提出しない理由



また、薬剤経済学的評価に対する各製薬企業の意識調査であるアンケート 2 の結果をみると（第 2 章）、「専門に行う組織もなく担当者もいない」が 70.0%（49/70 社）、「研究開発では利用していない」が 71.4%（50/70 社）、「マーケティングで利用していない」が 62.3%（43/69 社）と、現状は企業内の組織としても利用状況からみても、日本において薬剤経済学的評価はあまり活用されていないようである。しかし、今後の活用に関しては「すでに利用しており今後も活用する予定である」が 20.6%（14/68 社）、「現在は利用していないが今後は活用する予定である」が 48.5%（33/68 社）と、今後何らかのかたちで活用する意向の企業が 69.1%（47/68 社）となり、薬剤経済学的評価利用に対し前向きな姿勢がうかがえる。研究開発時に利用を開始するあるいは市販後のマーケティングにおいて利用を開始する等、各企業がさまざまな段階を経て薬剤経済学的評価を利用すれば、その活用範囲は広がるであろう。一方海外における専門組織の設置状況をみると、海外に薬剤経済学的評価を専門に行う組織がある企業は外国企業で 20 社中 17 社あり、日本での設置状況（日本国内における外国企業の専門組織設置は 20 社中 5 社）に比べ海外では薬剤経済学的評価を活用する体制が整っているようである。国内企業では、海外に専門組織がある企業は 50 社中 4 社しかないが、これは海外展開が進んでいない企業が多く含まれているためであり、海外に専門組織を持つ 4 社は全て売上上位 10 社に入る企業であり海外展開が進みつつある。

医薬品を評価するとして、品質、有効性および安全性については新薬承認の要件として求められている。一方、経済性については新薬承認の際に考慮されるものではないが、諸外国では、支払い者の立場からの医療費適正化の視点や、患者にとっての医療費負担の視点など、医薬品の経済性に関するエビデンスがさまざまな立場から重要視されるようになってきている。

薬剤経済学研究は、薬価設定の根拠や償還の可否といった政策レベルでの利用以外にも、種々の場面での活用が考えられる。例えば、医療機関における採用医薬品の選択、診療ガイドラインやクリニカルパスの策定、患者の意向を考慮したうえでの診療方針の決定（shared decision making）などがある。今後、製薬企業は、新薬の価値を経済性の面からもアピールするために、薬剤経済学研究により得られた経済エビデンスを各方面に明示することが求められるようになると考えられる。

わが国においては、薬学部の 6 年制への移行に伴い「薬剤経済」がコアカリキュラムに盛り込まれるなど、大学等における教育体制の整備が進んでいる。しかし、諸外国と比べると、研究ガイドラインやデータベースが未整備であることなど、質の高い薬剤経済学研究を実施するためには未だ多くの課題が残っている状況にある。

また、薬剤経済学研究の活用が進んでいる海外においても、HTA（Health Technology Assessment）に関し各国間で、既存の評価方法に関する議論（例えば、イギリス NICE の QALY を用いたアプローチ対ドイツ IQWiG の提唱する効率的フロンティアを用いたアプローチ[4]）、新しい評価手法の開発、医薬品の価格設定や償還における考え方、医薬品の効

果を評価するためのデータを各国間でいかに共有できるようにすべきなのか等、未だ解決すべき事項が存在している。わが国における薬剤経済学研究の推進と本格的活用に向けて、学術団体（ISPOR；International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, 国際医薬経済・アウトカム研究学会 日本部会など）を中心に、各国の行政当局、製薬産業および医療関係者との情報交換を進めていくことも重要な課題であると考えられる。

参考文献

- [1] International Trends in the Use of Health Technology Assessment. Michael Drummond, Neil Grubert. Decision Resources Inc 2007.

- [2] 坂巻弘之、広森伸康、油谷由美子、久保田健、中村景子. わが国の新薬薬価算定における薬剤経済学資料の現状と 政策利用における課題—1997～2000 年に収載された 114 品目における日本製薬工業協会加盟会社への調査—. 薬剤疫学 2001;6(2)

- [3] 池田俊也、小野塚修二. 医薬品の価格算定と薬剤経済学 — 応用への道筋 —. 医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ 2004;19

- [4] Methods for Assessment of the Relation of Benefits to Costs in the German Statutory Health Care System. Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG) .Version 1.1 .09.10.2008

アンケート用紙 1

整理番号	
------	--

- ・以下の製品につきましてアンケートへのご協力をお願い申し上げます。
- ・医療経済学的評価資料を添付した場合は、当該製品の医療経済学的評価資料作成に最も関わった方にご記入いただくようお願い申し上げます。
- ・医療経済学的評価資料を添付しなかった場合は、その理由をご記入の上、ご返送ください。
- ・一製品について複数の異なる対象疾患について分析を実施した場合には、お手数ですが、本アンケート用紙をコピーいただき、それぞれについてご記入くださいますようお願い申し上げます。
- ・誠に恐縮ですが、ご記入いただきましたアンケート用紙は、同封の返信用封筒にて、平成 20 年 6 月 20 日（金）までに投函くださるようお願い申し上げます。

製品（販売名）：

医療経済学的評価資料の添付（該当する番号に○をご記入ください）

1. あり → 次ページ以降のアンケートへお進みください。

2. なし

→ 薬価交渉の時期に

(1) 医療経済学的分析を行っていたが添付しなかった

i. 資料提出のメリットがないと考えたため

ii. その他

(具体的にご記入ください: _____)

(2) 医療経済学的分析は行わなかった

i. 分析を行うためのデータが不足していたため

ii. 社内に担当者がいなかったため

iii. その他

(具体的にご記入ください: _____)

－アンケート－

質問1 分析の対象疾患（年齢や重症度などが限定されていればその対象集団名）をご記入ください。

質問2 「医療経済学的評価資料」におけるカテゴリーをご記入ください。

1. 既存の薬物療法がない
2. 既存薬に比し、有効性に優れる
3. 既存薬に比し、安全性に優れる
4. 既存薬と同様

質問3 申請に際してどのような資料を提出しましたか。（該当するもの全てに○をお付け下さい）

1. 要旨
2. 分析の詳細を記したレポート
3. 投稿論文 → 質問19の1に具体的な雑誌名などをご記入ください
4. 社内資料
5. 海外での分析結果
6. その他（具体的にご記入ください：_____）

質問4 分析手法は何を用いましたか。

（複数の分析手法を用いた場合には、該当するもの全てに○をお付けください）

1. 対照薬と効果の差がないという前提で、費用最小化分析（CMA）を実施
2. 複数の効果尺度を列挙して、費用・結果分析（CCA）を実施
3. 単一の非金銭的効果尺度を用いて、費用/効果分析（CEA）を実施
4. 効果尺度として質調整生存年（QALY）を用いて費用/効用分析（CUA）を実施
5. 効果尺度として金銭的価値を用いて費用/便益分析（CBA）を実施
6. 効果については検討せず、比較対照との費用比較を実施
7. 比較対照とおかず、当該薬物療法の費用算出を実施
8. その他（具体的にご記入ください：_____）

質問4-(1) 費用/効果分析（CEA）の場合の効果指標

1. 生存年
2. 治癒までの期間
3. 入院日数
4. QOL
5. 治験のエンドポイントと同一（具体的にご記入ください：_____）
6. その他（具体的にご記入ください：_____）

質問4-(2) 費用/便益分析 (CBA) の場合の便益算出法

1. 支払意思法 (Willingness-to-pay)
2. 賃金換算・人的資本法 (Human Capital)
3. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問5-(1) 分析における比較対照につきお答えください (下記の5項目それぞれに○をお付けください)。

薬物治療

1. 使用した
2. 使用しなかった

手術などの非薬物療法

1. 使用した
2. 使用しなかった

プラセボ

1. 使用した
2. 使用しなかった

無治療

1. 使用した
2. 使用しなかった

その他

1. 使用した (具体的にご記入ください: _____)
2. 使用しなかった

質問5-(2) 比較対照薬 (プラセボ含む) は次のいずれでしょうか。該当するもの全てに○をお付け下さい。

1. 臨床試験における対照薬を使用
2. 薬価算定における比較薬を使用
3. 原価計算方式のため比較対照薬はない

質問6 分析の立場

1. 社会全体
2. 支払者
3. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問7 費用の範囲 (複数ある場合は、該当するもの全てに○をお付けください)

1. 医療費
2. 医療費以外に発生する費用
3. 労働損失 (生産性費用・間接費用)
4. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問8 医療費の算出方法 (該当するもの全てに○をお付けください。)

1. 薬価や診療報酬点数を用いて「請求額ベース」で算出
2. 医療従事者の人件費や購入価格を「原価ベース」で算出
3. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問9 分析における時間軸 (time horizon)

1. 臨床試験における観察期間 (具体的にご記入ください: _____)
2. 生涯 3. 1年間 4. その他(具体的にご記入ください: _____)

質問10 分析に用いたデータ (該当するもの全てに○をお付けください)

1. 当該治験論文からの引用
2. 当該治験における個票 (ケースカード) のデータ
3. 当該治験に参加した患者のレセプト
4. 当該治験に参加した患者のカルテ
5. 公表された論文 (当該治験以外)
6. レセプト (当該治験患者以外)
7. カルテ (当該治験患者以外)
8. 大学等から提供された未公表資料や社内データ
9. 商業データベース (IMS など)
10. 医師や専門家の意見・推計値
11. 公的統計
12. その他(具体的にご記入ください: _____)

質問11 使用した QOL 尺度

1. SF-36 2. EQ-5D 3. HUI 4. QWB 5. TTO 6. SG 7. VAS
8. その他(具体的にご記入ください: _____)

質問12 モデリング (該当するもの全てに○をお付けください)

1. マルコフモデル 2. 判断樹モデル 3. モンテカルロシミュレーション
4. モデリングを使用せず 5. その他 (具体的に: _____)

質問13 割引率

1. 年率 () % 2. 割引なし

質問 14 結果の不確実性 (Uncertainty) の取り扱いについて

1. 分析的手法を用いなかった

2. 分析的手法を用いた

→ 分析的手法を用いた場合、その手法 (該当するもの全てに○をお付けください)

(1) 散布度

(2) 信頼区間 (_____ %)

(3) 信頼楕円

(4) 費用効果における需要曲線を用いた分析

(5) Probabilistic Sensitivity Analysis (PSA) あるいは Systematic Sensitivity Analysis (SSA)

(6) その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問 15 分析結果の表示 (該当するもの全てに○をお付けください)

1. 費用削減額

2. 平均費用/効果比

3. 増分費用/効果比

4. 費用および複数の効果指標を列挙 (cost-consequences)

5. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問 16 分析結果

1. 比較対照に比べて費用削減

2. 比較対照と費用は同等

3. 比較対照に比べて費用は増加するものの、費用対効果は優れている

4. 比較対照に比べて費用は増加し、費用対効果は悪い

5. その他 (具体的にご記入ください: _____)

質問 17 分析実施者

1. 社内

2. 大学等研究者への委託

3. 受託会社への外注

4. 海外研究の翻訳

質問 18 分析方法 (評価のデザイン、モデル等) の開発

1. 当該品目に独自で開発したオリジナル

2. 当該品目の海外先行研究を参考にした

3. 自社の他製品の分析を参考にした

質問 19 医療経済学的評価を開始した時期（下記の 3 項目それぞれに○をお付けください）

医療経済学的評価実施の決定

1. P-II 開始前 2. P-III 開始前 3. P-III 実施中 4. 製造承認取得前 5. 製造承認取得後
データ収集

1. P-II 開始前 2. P-III 開始前 3. P-III 実施中 4. 製造承認取得前 5. 製造承認取得後
分析

1. P-II 開始前 2. P-III 開始前 3. P-III 実施中 4. 製造承認取得前 5. 製造承認取得後

質問 20 研究結果の公表（該当するもの全てに○をお付けください）

1. 論文として公表した

（雑誌名など具体的にご記入ください： _____ ）

もし可能であれば該当するページのコピーを頂戴いたしたく、お願い申し上げます。

2. 投稿中

3. 論文として公表予定

4. 学会発表を行った

5. 学会発表予定

6. 公表予定なし

（1）公表する必要がない

（2）対照薬提供会社との契約のため

（3）商業データベースを分析に使用したため

（4）その他（具体的にご記入ください： _____ ）

質問 21 分析において「極めて問題」と感じた項目全てに○を、「やや問題」と感じた項目
全てに△をお付けください（該当するもの全てに○あるいは△をお付けください）。

（ ） 国内に研究ガイドラインがない

（ ） 病気の自然経過や患者数などの疫学データが限られている

（ ） 相談できる専門の研究者が少ない

（ ） 社内体制が整っていない

（ ） 臨床試験データでは効果や予後のデータが不十分

（ ） 臨床試験では QOL の計測が困難

（ ） 費用データの入手が困難

（ ） 臨床医の協力が得られない

（ ） GCP との関係で臨床試験における経済的データの収集が困難

（ ） 対照薬提供会社との契約の関係で分析が困難

（ ） 臨床試験に用いた対照薬と、薬価算定時に用いた対照薬が異なる

その他に問題と感じた点があればお教えください。

（ _____ ）

アンケート用紙2

整理番号	
------	--

- お忙しいところ誠に恐縮ですが、アンケートへのご協力をお願い申し上げます。
- アンケート用紙1（平成15年4月1日～平成20年4月18日の薬価収載品）についてご記入いただいた企業様におかれましては、本アンケート用紙に重複するような内容がございますが、何卒再度ご記入いただきたくお願い申し上げます。
- 期間の目安として、おおよそ5年間程度（平成15年から平成20年）の動向につきご回答ください。
- 誠に恐縮ですが、ご記入いただきましたアンケート用紙は、同封の返信用封筒にて、平成20年6月20日（金）までに投函くださるよう重ねてお願い申し上げます。

質問1 御社（日本法人）に医療経済学的評価を専門に行う組織（アウトカムリサーチを含んでいても結構です）はございますか。該当する番号に○をご記入ください。

1. 専門に行う組織がある

→ 何名の方が所属しておられますか。可能であれば組織名もお答えください。

2. 専門に行う組織はないが、マーケティング部門、開発部門等に医療経済学的評価を行う担当者はいる

→ どのような職種の組織に何名の方がおられますか。

3. 医療経済学的評価を専門に行う組織もなく担当者もいない

→ 今後社内体制の強化（専門の組織や担当者の配置）を行う予定はございますか。

- (1) ある
- (2) ない
- (3) 不明

質問2 海外に医療経済学的評価を専門に行う組織（アウトカムリサーチを含んでいても結構です）はございますか。該当する番号に○をご記入ください。

1. ある

→ もし可能であれば、組織名と何名の方が専従しておられるかお答えください。

2. 海外に医療経済学的評価を専門に行う組織はない

質問3 御社ではFDAが2006年2月に出した「PRO（患者報告アウトカム）ガイダンス」に対応する方法を検討あるいは実施しておられますか。

- 1. 実施している
- 2. 検討しているが、実施していない
- 3. 検討も実施もしていない
- 4. 不明

質問4 本邦において現状の研究開発の意思決定に医療経済学的評価（費用対効果等）を利用されていますか。該当する番号に○をご記入ください。

- 1. 利用している
 - 2. 研究開発では医療経済学的評価を利用していない
(理由をご記入ください：_____)
- (1)利用されている場合には、どのようなケースでのご使用なのか、該当する全ての番号に○をご記入ください（複数回答可）。
- i. プロジェクトの go/no go の判断
 - ii. ライセンスイン/アウト（導入/導出）の判断
 - iii. その他(具体的にご記入ください：_____)
- (2) 医療経済学的評価（費用対効果等）を 自社における想定薬価の算出に使われていますか。使っている場合にはその分析についてお答えください。
- i. 使っていない
 - ii. 使っている
 - ア. 日本で独自に分析した
 - イ. 海外での分析結果をそのまま使用した
 - ウ. 海外での分析結果の一部を使用した
 - エ. その他
(具体的にご記入ください：_____)

質問5 本邦において薬価交渉の時期に医療経済学的分析結果を提出しましたか。

- 1. 提出した
- 2. 提出しなかった

質問6 本邦において医療経済学的評価（費用対効果等）をマーケティング（例えば市販後のプロモーションのための情報提供）に利用されていますか。

- 1. 医療経済学的評価を利用していない
(理由をご記入ください：_____)
 - 2. 医療経済学的評価を利用している
- 利用されている場合、製品の売上に対しその効果があるとお考えですか。
- (1) 効果がある
 - (2) どちらでもない
 - (3) 効果はない

質問7 5年間（平成15年から平成20年）で本邦において薬価再算定での医療経済学的評価の使用経験はございますか。使用経験がある場合には、可能であれば該当する品目名、再算定日につきご記入ください。

1. 再算定での使用経験はない

2. 使用経験あり

→ ご経験がある場合にはその品目名と再算定日を記入ください。

①品目名： _____ 再算定日： _____

②品目名： _____ 再算定日： _____

③品目名： _____ 再算定日： _____

質問8 今後の医療経済学的評価の活用に関しお答えください。

1. 医療経済学的評価を利用しない

（理由をご記入ください： _____ ）

2. すでに医療経済学的評価を利用しており今後も活用する予定である

3. 現在は医療経済学的評価を利用していないが今後は活用する予定である

以上でアンケートは終了ですが、医療経済学的評価利用の可能性、課題等どんなことでも結構です、ご自由に記入してください。

ご協力誠に有難うございました。

差し支えなければ、ご担当者名をご記入いただきたくお願い申し上げます。

会社名 _____

部署名 _____

ご芳名 _____

以上