

RESEARCH PAPER SERIES

「医薬品の価値」をあらためて考える

田村 浩司

(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. 73

(2019 年 5 月)

日本製薬工業協会

医薬産業政策研究所

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、著者の承諾なしに転載、複写・複製することを禁ずる。

本リサーチペーパーの内容は、製薬協の関連各委員会から参加いただいた専門家からなる「医薬品の価値研究会」での議論の内容を基礎としつつ、筆者の責任においてとりまとめを行ったものである。

本リサーチペーパーに記された意見や考えは著者個人に属するものであり、日本製薬工業協会およ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：

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 2-3-11 日本橋ライフサイエンスビルディング
7F

TEL: 03-5200-2681; FAX: 03-5200-2684

URL : <http://www.jpma.or.jp/opir/>

目 次

エグゼクティブ サマリー.....	1
はじめに 今回の検討の背景.....	6
第1章 医療の本質と医薬品の役割を再確認する.....	6
第2章 医薬品の価値をあらためて考える.....	10
(1) 医療的価値.....	11
(2) 社会的価値.....	14
(3) 保健基盤的価値.....	15
第3章 医薬品の価値の多面性とは.....	19
(1) 基幹的価値が包含する多面性.....	19
(2) 治療にまつわる要素が包含する多面性.....	20
(3) 医薬品そのものの性能が持つ多面性.....	21
第4章 医薬品の価値の評価とは 多因子性と困難さ.....	22
(1) 顕在的価値と潜在的価値.....	22
(2) 医薬品の価値の測定に対する困難性（計測、定量化、客観化、エンドポイント、知覚 etc.）.....	23
(3) 立場による評価基準の違い等.....	26
第5章 測定と評価のイノベーションに向けて：医薬品の価値の評価に有用な取り組み事例.....	30
(1) 薬効測定の質的量的時間的拡大＝革新的な薬効測定技術の実用化.....	30
(2) リアルワールドデータ（RWD）の活用.....	31
(3) Patient Reported Outcome の活用（QOL 評価の質向上に向けて）.....	31
第6章 医薬品のさらなる価値創出と向上（最大化）のための今後の課題.....	33
(1) これからの創薬イノベーションのあり方とは.....	33
(2) キーワードは「患者中心の医療」「患者参加型医療」.....	35
(3) 新たな創薬イノベーションに向けて：「価値をつくる」「価値をそだてる」「価値をとどける」... ..	37
おわりに 今後の課題など.....	44
<補遺> 創薬イノベーションの評価軸に関する一考察.....	45
謝辞、参考文献等.....	46

エグゼクティブ サマリー

○なぜ今、あらためて「医薬品の価値」なのか

医療において、医師は目の前の患者の治療に最善を尽くすことが最優先であり、これまで医療費・コストに関してはそれほど気にする必要がなかったため、さほど重要視されていなかったと思われる。しかしながら、最近の医療保険財政は厳しくなっており、現在の国民皆保険制度の持続性に懸念が抱かれている。そのなかで、医薬品の役割や価値についても、特に新薬と既存薬との費用対効果の比較を中心に注意が向けられるようになってきた。

医薬品の効用は基本的に治療アウトカムであるものの、これにとどまらないさまざまな便益を、患者のみならず社会等に対しても提供していることなど、医薬品の価値は多面的観点から考えなければならないことについて、各関係者に理解していただく必要が生じている。そこで、医薬品の価値の多様性・多面性について、考え方を整理しわかりやすい形で提供する資料として本リサーチペーパーを作成した。これを材料としながら、今後各ステークホルダーとの議論等を通じて、各々の考え方の相違も含めて認識・情報共有しつつ、医薬品の役割や価値、期待などについてお互いに理解を深めていきたいと考えている。

○医療の本質と医薬品の役割を再確認する

医療とは、医術・医薬で患者の病気やけがを治すことであり、その本質は、人々が心身ともに健康で長生きすることを助けることである。医療の主役は患者自身であり、医師・医療関係者や医薬品などの役割は、患者自身による健康状態の改善を補佐することである。その中で医薬品は、特に内科的治療の実践において、その本質を担うものである。

一方で、これからの医療の役割は、予防や先制医療などへも拡大すると予想され、これに伴い医薬品に期待される役割も広がると期待される。その実現に向け、各製薬企業はそれぞれの持つ強みを活かしつつ、時に外部の力も取り入れながら、新たな有効成分や新たなモダリティの創出とこれらの実用化を通じて、新たな治療ソリューションを社会に提供すべく、弛まぬ努力を続けている。

○医薬品の価値を分類する

本稿では医薬品の価値について、（１）有効性・安全性を基本とする基幹的価値、および利便性等に基づく支援的価値からなる「医療的価値」、（２）患者の健康状態の改善に伴い本人、患者家族等の介助・支援者、国・社会などが得る間接的便益としての「社会的価値」、（３）医薬品がいざという時に使用可能な状態に準備されていることが国民・社会の健康リスクに対する安心を与える便

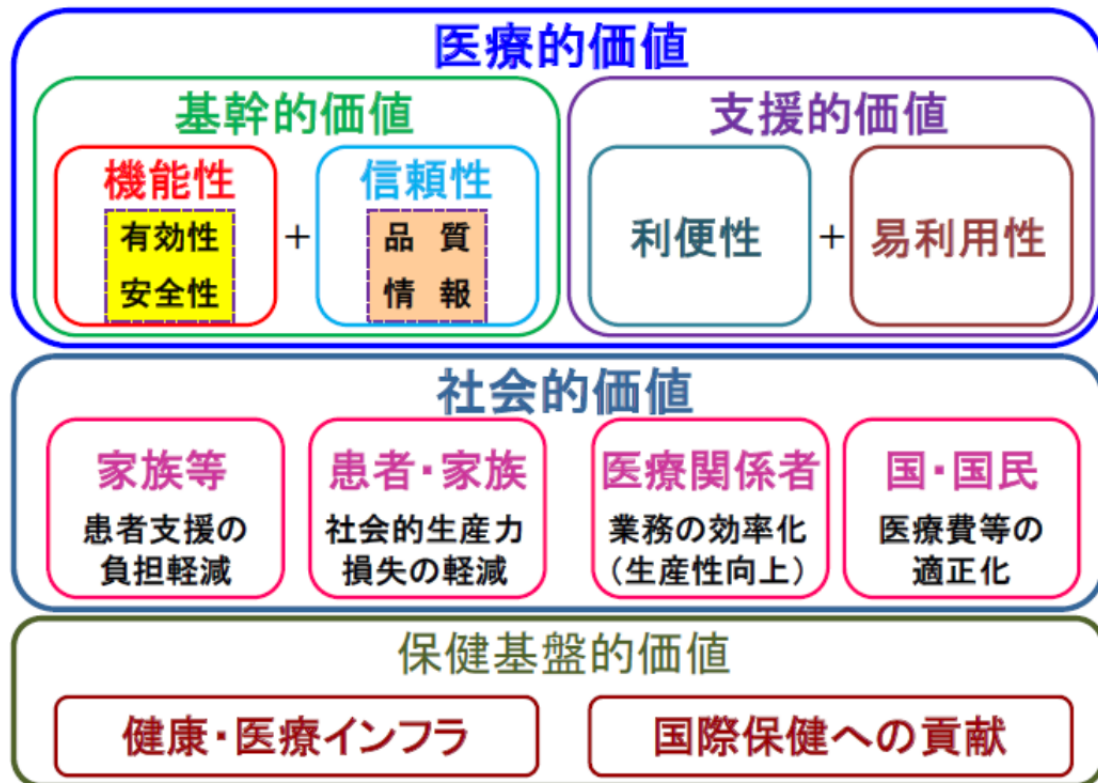
益、すなわち国民のウェルビーイング（肉体的・精神的・社会的に健康で幸福な状態）を支える役割としての「保健基盤的価値」、の大きく3つに分類した。

「医療的価値」は（予防効果を含めた）治療アウトカムで考えるものであり、指標としては、「質」（生命・生活の質（QOL）等の改善の程度）、「量」（生存期間の延長の程度）、あるいはこれらの組み合わせになる。なお、健康寿命の延伸は、QOLの改善に注目した考え方といえる。

「社会的価値」は基本的には患者以外の家族等の支援者、医療関係者、社会全体（国・国民）といった広く多様な関係者が得る、治療アウトカムから波及する便益で考えるものであり、指標としては、「家族等の患者支援の身体的・精神的・時間的・経済的等の負担軽減」、「（患者や）家族等の社会的生産力（労働生産性や就学機会など）の損失軽減」、「医療関係者の業務効率化・生産性向上」、「社会における医療費・介護費など関連費用の効率化・適正化」などが考えられる。

「保健基盤的価値」の指標としては、「人間の生命、生活の安全保障を支える健康・医療インフラ機能としての医薬品提供の充実度・カバー率や実際の貢献度」、また翻ってグローバルな視点に立てば国際保健（Pandemicや新興再興感染症、顧みられない熱帯病（NTDs）、薬剤耐性菌感染症（AMR）などの、治療および予防等）に対する医薬品提供の貢献度・充実度などが考えられる。

医薬品の3つの価値



○医薬品の価値は多面的である

医薬品の価値は、モノとしての医薬品が具備する特性に基づくもの以外に、医療において、あるいは広く社会生活のなかで使用される際の環境的要因に由来するものもある。この中には、治療的（医学薬学的）要素以外に、日常生活的要素（利便性や治療継続性を含む）や社会的要素（費用面を含む）、さらには患者個人の治療等に対する考え方や価値観なども含まれる。

このうち医療的価値については治療アウトカムに至るプロセスを基に考えると、疾病の特性（原因側）、対象患者の特性（反応側）、治療特性（目的・方法等）の主に3つの要素が関係する。これらはさらにいくつかの副次要素があり、さらに質と量の2つの切り口でとらえられる場合があるというように、多くの因子によって多面的重層的に構成される。

社会的価値や保健基盤的価値については、患者以外へ対象が広がるとともに、価値につながる要素もさらに多種多様に広がっている。

○医薬品の価値の評価は難しい

価値には顕在化している（見えている）ものと、潜在化している（見えにくい・見えない）ものがある。医療的価値は（相対的に）見えやすいが、社会的

価値は見えにくく、保健基盤的価値は通常は見えない（意識されない）。また、たとえ顕在化しているものでも、価値の各指標については適切なデータが取得し難い場合もあり、その結果効用・便益が測定できない、あるいは評価が困難な場合も現状では少なからず存在する。

さらに、評価の立場によって、その目的や重要と考える要素の優先順位・重みづけは異なると考えられ、これに伴い当該医薬品の価値の評価も異なる可能性がある。例えば「治療アウトカム」は、患者が日常生活の QOL や満足度の向上、あるいは人生における“その人固有の望ましい心身の健康状態”を基準とする一方で、医師がもし“医学的な意味での治療の達成”を基準にするならば、評価結果が異なる場合もあるかもしれない。

加えて、3つの価値はそれぞれに多面性を持ち、特徴・性質もそれぞれ異なるため、これらを同様に（横並びに）評価することは困難である。

○カギは、どう「見える化」するか

医薬品の価値を評価するためには、評価対象を「ただしく定め」、「ただしく捉え」、そして「ただしく測る」ことが前提となり、これらをどこまで科学的に、明確にできるかが課題解決に向けての **Key Success factor** になるだろう。

医薬品の価値には「見える価値」も「見えない価値」もあり、本来はこれらを総合したものが真の価値である。しかしながら、その評価の際には「見えない価値」はともすれば軽視あるいは無視されがちなのが実情と考えられる。したがって、価値が正当に評価されるための技術的な方策としては、新たな指標や測定方法（ICT 活用を含めて）の実装化などを通じて、可能な限り「見える化」していくことが挙げられるだろう。

○創薬イノベーションは医薬品の価値の源泉かつ成長ドライバーである

イノベーションとは技術革新そのものではなく、新しい手段（技術革新）によって社会に役立つ新しい価値を生み出すことである。創薬イノベーションとは、革新的医薬品創製を通じて新たな治療法や予防法を生み出し、進化させることによって、今まで達成できなかった（治療満足度の低い）医療上の課題を解決し、患者の健康・医療上の目的（効用）を達成することといえるだろう。医薬品の価値を創薬イノベーション（革新的イノベーション＋漸進的イノベーション）を通じて患者に届けられるアウトカムと考えるならば、真の受益者たる患者の立場から医薬品の価値を考えることが、その真の評価に結び付くと考えられる。

○医薬品の価値の最大化＝個の医療の実現に向けた製薬産業の使命とは

医薬品の価値は一義的には治療アウトカムである。これを患者の立場から医薬品の理想形として表現すると、「より有効に、より安全に、より速く、より確実に、より短期間に治療完了」し、「より使い勝手よく、より低い経済的負担で、必要な時に、安心して」使えること、換言すれば、「精密医療（個の医療、的確な医療）を」「いつでもどこでも過度な負担にならない範囲で安心して」受けられるための、医薬品の貢献の程度ということになるだろう。

治療アウトカムについて患者ごとに“最大化”を目指すことは、すなわち「個の医療」の実現に近づくことになると考えられる一方で、現状の新薬承認時点では「個の医療」が実現されている状態とはいえない。「個の医療」実現のために、個々の製薬企業、あるいは産業全体、さらには必要に応じて他業種やアカデミア等と協同して、これに必要な先端科学を実装化していくことが求められる。精密な診断→これに基づく適正な薬剤選択と使用→アウトカム評価→治療法の改善（適切な治療薬の再選択）のPDCAサイクルを回すために、これらを支える検査・診断技術や創薬技術を実用化するとともに、リアルワールドデータ等あらゆる健康医療情報を活用してその質を高めていくことが、医薬品の価値最大化のために製薬産業が課せられた使命であろう。

（追記）本リサーチペーパーの内容は、製薬協の関連各委員会から参加いただいた専門家からなる「医薬品の価値研究会」での議論の内容を基礎としつつ、筆者の責任においてとりまとめを行ったものである。

はじめに：今回の検討の背景

日本製薬工業協会（製薬協）医薬産業政策研究所は 2004 年 7 月に、政策研究リサーチペーパーNo.20「医薬品の価値」を発表した。この中では「有効性」と「安全性」を本質的価値に、「使いやすさ」「安心感・信頼性」「使用に関する情報」を付加的価値にそれぞれ位置づけ、本質的価値についてはさらに時間軸として「予防」「治療」「予後」の 3 時点で分類していた。

本質的価値については現在でも基本的に変わるものではなく、製薬企業は各疾患領域において新薬を創出（適応追加を含む）することにより新たにこれを生み出し、また磨き込み続けている。一方で、**患者中心の医療 (Patient Centricity)** が昨今注目されるなか、疾病の治療はもとより患者の（副作用の低減等を含めた）**日常生活の質の改善に関する重要性・ニーズも高まっている**。

また、本質的価値と付加的価値に加えて、**家族の身体的精神的負担の軽減、生産性改善などの経済的要素**、また医療業務の効率化による医療費・介護費等の削減などを通じた国民皆保険制度維持への貢献、さらにグローバルヘルスへの貢献といった**社会的要素**なども、**社会的要請としてその重要性がこれまで以上に高まってきている**。

今回、上記リサーチペーパーNo.20 の内容を、その後の医療や医薬品を取り巻く環境の変化や関連の科学・技術の進歩などを踏まえて見直し、医療や社会にもたらす多種多様な効用として提供される医薬品のさまざまな価値とその多面性について再整理するとともに、医薬品毎に異なる価値の多面性の評価に関する考え方を提示することにする。なお、本稿では「医薬品の価値」について、特に患者さんや一般国民にもわかりやすいように整理することを企図している。そのため、創薬を支える基盤としての「製薬産業の価値や貢献」（例えば雇用の創出・維持、持続的な担税、サイエンスの深化など）については、医薬品の価値創出に対する基盤でもあり当然重要ではあるものの、医薬品の価値に焦点を当てるために、本稿においてはあえて記述していない。

第 1 章：医療の本質と医薬品の役割を再確認する

WHO の定義によれば、健康とは病気でないとか、弱っていないということではなく、肉体的にも、精神的にも、そして社会的にも、すべてが満たされた状態にあること（ウェルビーイング）をいう¹⁾。

¹⁾ WHO 憲章前文(日本 WHO 協会仮訳)。なお平成 26 年版厚生労働白書では、「健康とは、肉体的、精神的及び社会的に完全に良好な状態であり、単に疾病又は病弱の存在しないことではない。」とされている。

医療とは、医術・医薬で患者の病気やけがを治すこと（予防も含む）である。患者は医療に対して、自らが苦悩する健康上の不具合（心身の機能的障害、痛みなどの感覚的障害など）の解消・改善を求め、医療提供者たる医師はその要請に応えるべく、合理的範囲内において可能な限りの様々な医療行為を行う。その実践には、診断（検査／診察）→治療→診断・効果判定→治療継続 or 治療変更 or 治療完了（全治、寛解など）というプロセス（いわゆる PDCA サイクル）を適時適切に進める必要がある。

医療における医師の目的・役割は、目前の患者の健康上の問題を解決することであり、具体的には施療で“病気を治す”ことになる。一方、患者が医療に求める目的・役割は、**疾病の治療により自身の健康上の不具合を解消（健康を回復）し、健全な日常生活・社会生活（≡ウェルビーイング）を取り戻すこと**であろう。そうであるならば、**治療を受けること（受療）は、最終目的（ウェルビーイング）を達成するための手段**ということになる。患者（需要者）と医師（供給者）で治療目標やニーズ、あるいは課題解決の優先順位に齟齬があると、患者からみた最終目的が適切なかたちで達成できないおそれがある²⁾。

医薬品とは、病気の診断、治療、予防に用いるくすりのことである。**内科的治療**とは、診断を踏まえて適切な治療薬および用法用量を選択し、目前の患者に最適な投薬を実施し、治療完了（全治）まで診断と治療（投薬）の PDCA サイクルを適切に回すことであり、**医薬品はその実践において本質的役割を担う**。

医薬品の一義的な役割は、患者が健康を取り戻し維持する、あるいは罹患を予防するための、患者自身の心身の修復／健康維持活動を補助することである。そしてその結果が、**生命・生活・人生の3つの Life³⁾の向上につながる**ことになる。ただしその治療（薬効発揮）の過程においては副作用を伴う場合もあり、治療薬によっては現時点で治療の過程に改善の余地があるものも存在する。また、医薬品の価値を考えると、本質的価値たる治療的効用は必須かつ最重要要素として当然変わらないものの、患者の（副作用の低減を含む）日常生活の質（QOL）の改善、家族の身体的精神的負担の軽減、生産性など経済的要素の改善、業務の効率化による医療費・介護費等の削減などを通じた国民皆保険制度維持への貢献、さらにグローバルヘルスへの貢献といった社会的要素などの

²⁾ 例えば、治療中の副作用等による患者さんの悩みや苦しみに対する考え方（重要度）と、医師が考えるそれとの間には、対象疾患によっては相違があるといわれている（例：抗がん剤投与における脱毛や倦怠感などによる QOL(Quality of Life)や ADL(Activity of Daily Living)の低下をどう重要視するか）。

³⁾ 『これまで「医療」は、病気の治療や生命の維持に重点を置いて進められてきました。けれども、これからの創薬（新しい薬を生み出すこと）や医療技術は、「生命」（1つめの LIFE）だけではなく、「生活」（2つめの LIFE）や「人生」（3つめの LIFE）についても見据えながら研究開発を進めるべきではないでしょうか。AMED では「3つの“LIFE”を具現化する研究を支援すること」を理念として業務を行っています。ここで言う「生命」（1つめの LIFE）は人間を対象にした生命科学、「生活」は一人ひとりが幸せを感じながら生きていくために必要な医療、「人生」は個人の長期的な時間軸に沿った対応や、国・世界単位の社会的な医療ではないかと考えます。』出典：科学技術振興機構(JST)サイエンスアゴラ

重要性が、現代社会における社会的要請としてこれまで以上に高まってきている。

患者や医師が医薬品の機能として求める最善の条件は、「より有効に、より安全に、より速く効き、より確実に効き、より短期間に治療完了し、より使い勝手よく、より低い経済的負担で、(いつでもどこでも) 必要なときに、安心して」使用できることではないだろうか。そして繰り返しになるが、医薬品を用いた治療の結果、健常な日常生活を取り戻すことが、最終到達目標となるのではないか。そうであるならば、**医薬品の価値は、これら多面的な要素（ニーズ）をどれだけ達成し、最終目標（健常な日常生活の回復）への到達度を上げられるかという効用（指標）で評価することが、真の顧客である患者の視点においては妥当ではないだろうか。**ただし疾患等によっては、現状ではその測定あるいは評価が技術的に難しい場合があり、これまでは一部の測定しやすい要素のみに依拠した評価に留まらざるを得ない状況もあったと考えられる。

また、健康な人（健常人・状態）であれば医薬品を普段使用していないので、健常時には医薬品は世の中に存在していてもその効用が顕在化されていないことになる。しかし、人はいつかかならず病気に罹る。いつなるかわからないもののいざ病気に罹ったときに、その病気を治す**医薬品が使用可能な状態で存在することは、健常時における日常生活において大いに安心感を与えているのではないだろうか。**治療薬等の準備と必要時の使用が保険（共助）のかたちで保障されている現在の日本の国民皆保険制度（ユニバーサルヘルスカバレッジ、UHC）は、国民の厚生（ウェルビーイング）のための保健的な基盤あるいは命の安全保障の役割を担っており、**医薬品はその意味で、普段はそのありがたみに気付きにくい非常時にありがたみを実感する電気や水道などのいわゆるライフラインと同様に社会基盤の構成要素として位置づけることも可能だろう。**

さらに世界へ目を転じると、**各国・地域での医療環境や衛生環境、栄養状況、その他社会経済環境等の違いによって、（いわゆる「健康格差」も含めて）医療や医薬品に対する必要度の優先順位が異なってくる。**つまり、衛生環境や医療提供体制が整っていて比較的健康長寿な先進諸国と、いわゆる開発途上国では、医療や医薬品に対するニーズ（優先順位など）に違いがあると考えられる。先進国の国民にとっては罹患確率が極めて低く普段意識しないような病気（例：熱帯性感染症）に対する治療薬も、これらに悩む国々にとっては国民の生死に直結し、そのまま国家の存亡にかかわる極めて重要なものとなる。また、グローバル化や地球温暖化などによって、これまで地理的に限局されていた病気（風土病など）も世界中に蔓延する危険性が高まりつつある。これら公衆衛生に貢献する治療薬や予防薬も、途上国はもとより先進国においても今後一層重要な役割を担うことになる。換言すれば、医療は教育や外交・防衛などと同様に国

の安全保障に関わる大事な基本要素であり、国民が安全安心に健康的な生活を送るために必要な国家の基盤機能の一つであるといえよう。「医薬品が存在する」そのことによって、世界の人々が疾病のリスクから守られているということが、重要かつ基本的なことなのである。人類 76 億人（2018 年中位推計値、総務省統計局）の持続性の根源は、全ての医薬品にかかっているといえるのではないだろうか。

以上のようなさまざまな課題を解決するためには、医療のさらなる質的量的そして多面的な向上が必要であり、これを支える医薬品の役割や考え方などについてもその特性に応じて多面的でなければならない。究極的には個人一人ひとりの病態や心身状態（個性）、あるいは置かれている各種の環境条件等に応じて、各医薬品に対する必要性・重要性が異なることになる。また、患者、医師、国、保険者など、立場によって、重視する要素や優先順位も異なってくると考えられる。自分が元気であっても周囲に伝染性疾患を持つ者がいれば健康の脅威になるということからは、「個（人）」の観点以外に、「公衆衛生」「社会（国民集団）」さらには「グローバル（化）」の観点も必要となってくるだろう。

本稿ではここまで述べてきたような医薬品の価値の多面性について、いくつかの観点から整理するとともに、医薬品毎に異なる多面的価値の評価に関する基本的考え方を提示することにする。価値とは、「（物事の持つ）目的の実現に役に立つ性質、もしくは重要な性質や程度」を指すが、何に価値があり（高い）、何には価値がない（低い）とする判断の基準や体系は個人一人ひとりで異なり、このことをもって「価値観」と表現される。医薬品の価値として、本質としての病気を治療する効用に価値が「ある」ことは論を俟たないが、価値がどの程度あるのか、類似の医薬品や治療法等と比べてどれだけ価値が高いのか（あるいは低いのか）等については、客観的に評価できる部分とそうでない部分（例えば、社会的要素、倫理的要素、人生観などの個別性等）があるため、究極には一人ひとりの価値観に依存することになる。したがって、万人が合意する「単一の絶対的価値」の評価基準を決めることは事実上不可能であり、たとえば疾患ごとに「コンセンサス」を基に指標化を考えるなどの工夫が必要だろう。

患者や家族が必要とする医療を躊躇なく提供できるのが社会としての理想であり、そのために必要な仕組みをこれからは専門家集団のみならず国民全体で考えていかなければならない。本稿はその題材になることを企図して作成しているものである。

第2章：医薬品の価値をあらためて考える

<ポイント>

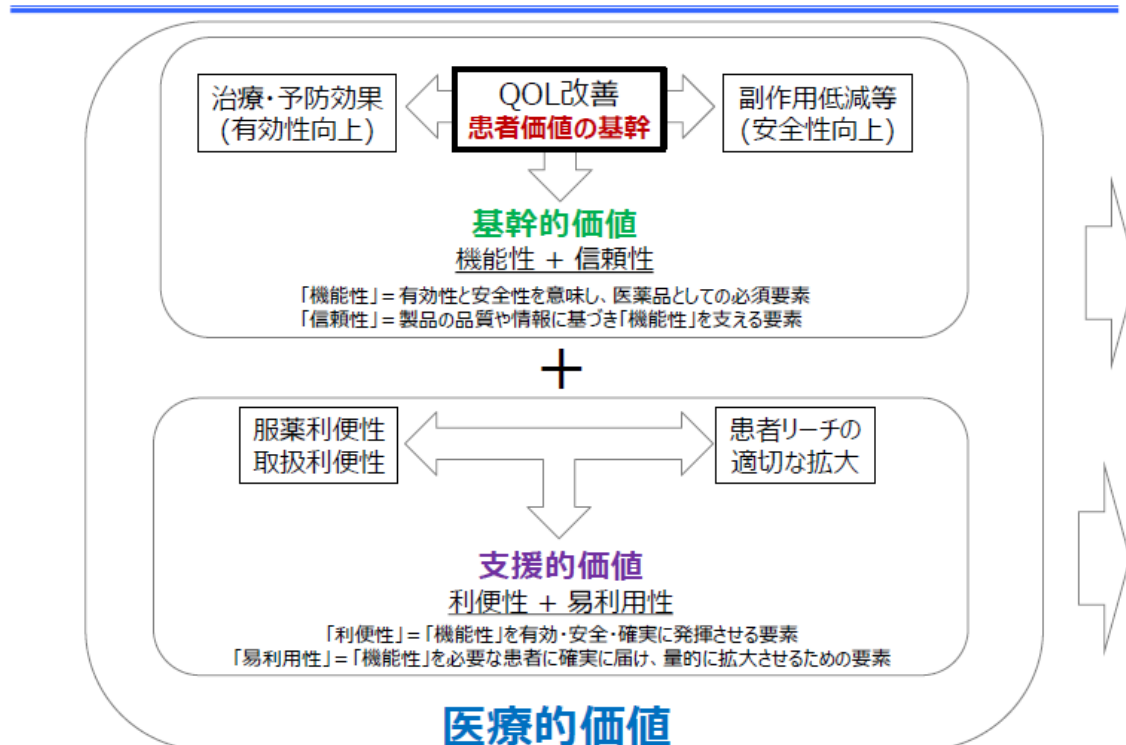
○「**医療的価値**」：機能性（＝有効性＋安全性）および信頼性（＝品質＋情報）に基づく「**基幹的価値**」と、利便性および易利用性に基づく「**支援的価値**」で構成される、患者が受療の際に直接受益する価値。

○「**社会的価値**」：受療の結果としての患者の健康状態の改善に伴い、患者本人や家族など介助・支援者、（広義の）医療提供者、国・国民が、各種負担の軽減や効率化、経済的メリットなどの様々な便益として享受する、医療的価値から派生する価値。

○「**保健基盤的価値**」：医薬品がいざという時に使用可能な状態に準備されていることで、国民・社会の健康リスクに対する安心感を与え、国民のウェルビーイングを支える価値。

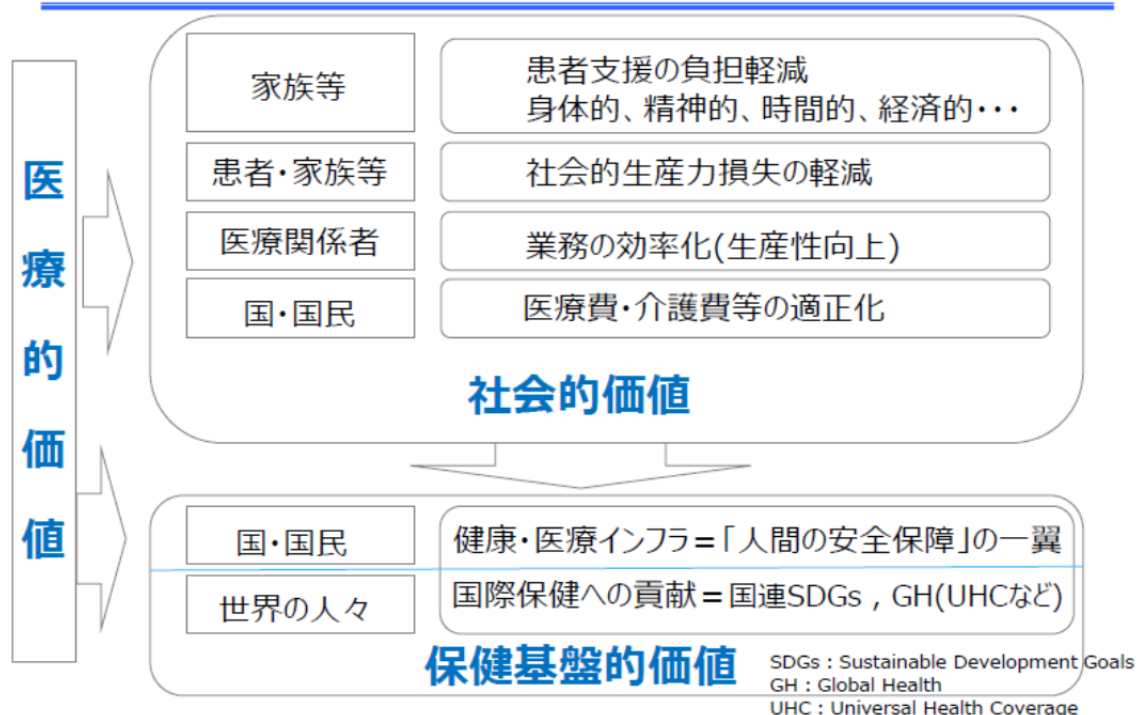
「医療的価値」の要素

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research



「社会的価値」、「保健基盤的価値」の要素

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research



<本論>

価値とは「(物事の持つ) 目的の実現に役に立つ性質、もしくは重要な性質や程度」を指す。医薬品とは、病気の診断、治療、予防に用いるくすりである。よって、**医薬品の価値とは、病気の診断、治療、予防の実現に役に立つ重要な性質や程度を意味することになる。**

第1章の内容を踏まえ、医薬品には以下に述べるように、「医療的価値」「社会的価値」「保健基盤的価値」の、大きく分けて3つの価値があると考ええる。⁴⁾

2－(1)－①「医療的価値」

治療においてその実現に役に立つ重要な性質や程度として最上位にあるものは、適応症に対する薬効であり、リサーチペーパーNo.20 ではこれを「本質的価値」を名付けている。これは**医薬品が医薬品であるため当然具備する「必要条件」**であり、(その目的が変わらない限り) 将来にわたっても変わらないものであることから「本質的価値」とされている。「本質的価値」は有効性と安全性の2つの要素から構成され、**治療の成果**は医師の立場からは医学的成果としての「病気の治療達成度」として考えることになるだろうが、これを**患者の立場**

⁴⁾ 「製薬協 政策提言 2019」(2019年1月発表)においても、「医薬品の多面的評価の必要性」が示されている。基本的考え方は本稿と同じと考えられるが、整理の方法において若干異なるところがある旨、留意されたい。

から考えるならば「健康な日常生活への回復度」あるいは「QOLの改善度」として捉えるべきものであろう。なお後述するように、今回は改めて医薬品の価値を考えるため、本稿では主に有効性と安全性からなる価値を「基幹的価値」と表現することにする（詳細は後述）。

一方で、医薬品の価値は医薬品の機能性を中核とする「基幹的価値」のみで与えられるものではない。患者や医師が医薬品の（医療上の）機能として求める最善の条件が、『より有効に、より安全に、より速く効き、より確実に効き、より短期間に治療完了』し、『より使い勝手よく、より低い経済的負担で、（いつでもどこでも）必要なときに、安心して使用できること』であるならば、後半部分の「より使い勝手よく、より低い経済的負担で、（いつでもどこでも）必要なときに、安心して」の各要素についても、その「成果」に応じて価値があることになる。上記各要素は「利便性（の向上）」＝患者（場合により、家族等支援者を含む）の使いやすさ（安全面や効率面など）、「アクセシビリティ（の向上）」＝その医薬品を必要とする患者が必要なときに（安心して）使用できる状態にあること、「アフォードビリティ（の向上）」＝使用者に経済的に過度な負担にならないこと、の3つに言い換えることができる。本稿ではこれら3つからなる価値を「支援的価値」と表現することにする（詳細は後述）⁵⁾。

上記について、一般財における顧客のニーズ、購買決定要因の観点からの顧客提供価値の考え方にあてはめてみると、一義的な競争のポイントは製品・サービスの「機能」と「品質」および「価格」だが、他にも「ブランド・信頼性」「供給のスピードや安定性」「手に入れやすさ」「顧客にとっての利便性」「顧客に対する理解の深さ」などがあるとされる。これを医療的価値で表現すると、「有効性・安全性」（機能性）、「品質」「安定供給」（信頼性）、「使いやすさ」（利便性）、「手に入れやすさ」（易利用性）と言い換えることができる。（立場により若干の違いはあると考えられるものの）現在の医療の世界においては、概ねこの順序で重視されていると考えられるだろう。

2－（１）－② 医療的価値の詳細

リサーチペーパーNo.20で本質的価値として一通り詳細な記述があるものの、本稿ではひとまずこれとは切り離して考えることにする。

2－（１）－②－a 「基幹的価値」（機能性＋信頼性）

有効性（の向上）：いわずもがな、医薬品の効用の最も基本的かつ枢要なものである。**適応症に対する治療効果（予防効果を含む）**として表されるが、疾患

⁵⁾ リサーチペーパーNo.20では「使いやすさ」「安心感・信頼性」「使用に関する情報」を「付加的価値」と名付けている。

毎に具体的な効用の指標は異なる。医薬品そのものの視点からは、当該医薬品が提供する治療目標（達成したい効用）が基本となる。入院期間の短縮や、通院頻度の減少は、治療の有効性の結果の直接のメリットとして獲得されるものであるから、有効性の一要素として考えられるが、結果としての医療費等の低減は社会的価値と捉えることもできる。

安全性（の向上）：現存する医薬品は、使用に際して安全性の点から何らかの注意が必要なものがほとんどである。十分な有効性を示す用法・用量においてどれだけ安全性が担保されているかは、**服薬に際して有効性同様に重要視されるべき要素**である。なお当然ながら有効性あつての安全性であることから、有効性／安全性比（の向上）と考えるべきかもしれない。

品質および情報：医薬品の**品質は有効性、安全性を物質的に担保する（ハードウェア）要素**であり、また（適正）使用に関する**情報は有効性、安全性を向上させるための（ソフトウェア）要素**であることから、これらは有効性、安全性を質的に支えるものとして、本稿では基幹的価値に含めるものとする。

2－（１）－②－b「支援的価値」（利便性、易利用性）

医療的価値における基幹的価値以外の価値については、立場や対象範囲などによってさまざまな考え方がありうる。ここでは、基幹的価値（特に機能性＝有効性＋安全性）を高める要素、および、多くの患者が受益しやすくするための要素を、支援的価値と呼ぶこととしたい。（なお、リサーチペーパーNo.20では、利便性については付加的価値と表現されている。）

利便性（の向上）：患者の服用のしやすさ（服薬利便性）や、薬剤の取り扱いの簡便化など（取扱利便性）により、**当該医薬品の安全で確実な使用が支援されることになり、結果として機能性を高めることにつながる**。よって医療上、基幹的価値（特に機能性）との関連性が強い要素である。

易利用性（の向上）：ここではアクセシビリティやアフォーダビリティを含む「**患者リーチの適切な拡大**」を意味する。

アクセシビリティとは、**当該医薬品を必要とする患者がこれを使用できる状態にあることを指す**。アクセシビリティは患者個人の立場からは必要時にその効用を得るために必須の状態として重要視されるべき要素であり、医薬品側からいえば当該医薬品が個々の患者に実際に使用されることではじめてその効用が発揮されることから、**医療的価値を当該医薬品の使用を望むできるだけ多くの患者に届けるために必須の要素**である。医療保険における保険収載（リスティング）は、アクセシビリティ確保に関して、制度上最も重要な要素の一つである。

アフォーダビリティとは、当該医薬品の使用に際して**患者に過度の経済的負**

担にならないことを指す。こちらもアクセシビリティと同様、医療的価値を当該医薬品の使用を望むできるだけ多くの患者に届けるためには必須の要素である。アフォーダビリティには経済性の要素が大きいが、医薬品そのものの価格の高低のみを意味するものではなく、保険適用（償還）などの薬剤給付制度のなかで考えるべき要素である。

2－（２）－①「社会的価値」

社会的価値とは、医療的効用（医療的価値）を通じて、主に患者本人以外の支援者（家族など）、医療提供者、国・国民が享受する、各種負担の軽減／効率化や経済的メリットなどの総称である。医療的効用の先に、広く各関係者に届けられる価値であり、その意味で波及的価値ともいえる。

2－（２）－②「社会的価値の詳細」

2－（２）－②－a「患者」社会的生産力損失の軽減（＋治療満足度の向上）

患者が病気の間は労働生産性等の社会的生産力⁶⁾が低下せざるをえない。例えば医薬品によって健康状態を回復し勤務復帰が早まれば（あるいは予防により罹患を回避できれば）、罹患に伴う労働生産性損失の一部を取り戻すことが可能である。

2－（２）－②－b「支援者（家族等）」患者支援のための各種負担の軽減

患者家族等（付添者・介助者）は患者支援のために、身体的精神的負担はもとより、医療費を含むさまざまな追加出費や時間的拘束も強いられる。健康な時と比べて金銭面では余分な支出と収入の減少という二重の負担がかかり、患者が（介助が必要な）罹患期間が長いほど、その負担も大きくなる。疾患の種類によって負担の程度はさまざまと考えられるが、いずれにせよ治療で上記の負担を減らすことが可能なため、これも重要な社会的価値と考えられるだろう。

2－（２）－②－c「医療提供者」医療業務の効率化（生産性向上）

医薬品の有効性、安全性、利便性の向上による医療的効用の拡大は、医師、看護師、薬剤師、理学療法士、作業療法士などによる治療関連業務の量を減らすことにつながると期待される。医療現場では医師をはじめ各スタッフが多種

⁶⁾ 社会的生産力：狭義には経済社会を構成する個々の部面(産業、企業、工場など)での生産能力あるいは労働の生産性のことをいうが、一般的には人間の社会生活に必要な種々の生産物の社会的供給能力の意味で用いられる。人類社会の発展はこのような社会的生産力の発展によって支えられており、生産力の発展水準が社会発展の度合を規定しているといつてよい。⇒ここでは、通常の意味においての「労働力」として社会へ生産活動をしていない方々における、ボランティア業務や修学機会などの活動も含めて考えることができる。

多様な業務に忙殺される現状があり、これら業務の一部でも負担軽減や不要化ができれば、労働時間の減少や他に必要な業務への従事、あるいは作業ミス等による危険性の低減などにつながり、その結果医療業務の効率化（生産性向上）が期待される。

2－（2）－②－d「国・社会」医療費、介護費等の適正化（と医療資源の有効活用）

治療による（より早期の）健康回復は、そうでない場合に比べて、（疾患および治療薬の種類に応じて影響の程度は異なるものの）医療費やその他関連費用を減少させることが期待される。すなわち、医療的価値が高ければ、診療業務内容・時間、治療回数、治療頻度、完治までの期間などが減少・短縮され、関連する各種コストが減らせると考えられる。また社会保障のための資源の効率的利用の観点からは、限られた資源量のなかでより必要とされる対象・領域への追加資源投入を可能にすることから、社会システム全体の質の向上や効率化・健全化にも寄与すると考えられる。

ただし、以上のような社会的価値については、データの不足や質の問題、あるいは関係者のコンセンサスが得られた適切な評価指標がない場合があるなど、残念ながら現状ではエビデンス取得や評価が難しい場合も少なくない。

2－（3）「保健基盤的価値」

人はみな、人間として尊厳ある充実した人生を全うしたいと考えているだろう。人間とは、生物学的意味での動物の一種であるとともに、社会的存在（社会の一員）として生産的活動を担う主体であり、社会とのつながりや社会への貢献が、人が人らしくあるための存在意義であろう。そのため、さまざまな生産活動を通じて社会へ貢献し、その結果として社会から欠くべからざる一員として認知され尊敬されることで、各人の人生の満足感を得ようとするだろう。

上記を達成するため必要不可欠な条件は、健康で文化的な生活を日常的に営めていることではないだろうか。そして、文化的であるためには、健康（な暮らしを営ん）でいることが前提になるのではないだろうか。

さて、健康で文化的な生活を営んでいる人々は、世界中で果たしてどれだけのいるのだろうか。健常な日常を送っている人は、それがあたりまえのこととして意識する必要がないため、健康であることの重要性やありがたみはなかなかわかりにくいだろう。しかし、**健常な日常は世界どこでもなにもせずとも所与のものとして存在するものでは決してなく、医療環境や衛生環境、あるいは必要な栄養摂取の確保等の生活環境などが社会システムとして整備され実効的に機能していることが大前提である。**人間も生物である以上、かならず体調の好不調があり、自然治癒力（自己修復能）のみでは回復できない病気を患うこと

から逃れることはできない。特に年齢を重ねれば、だれしも加齢性疾患と付き合わざるを得ないだろう。

この保健基盤的価値については、従来は社会的価値のなかに暗示的に含まれていたと考えられるが、本稿ではその役割と意義を明確にすべく、3つめの価値として位置付けるものである。

2－（3）－① 健康安全保障⁷⁾への貢献

人は人生を全うするまでに、さまざまな健康リスク（人の健康に生じる障害、またはその発生頻度や重大性のこと）に対応しなければならない⁸⁾。人は病気になった時には、適切な診察に基づき必要な治療を受ける（内科的治療においては必要な医薬品を服用する）ことで健康を取り戻そうとするが、日本ではこれが「国民皆保険制度」という名の社会システムとして備えられ、半世紀以上にわたって機能し続けている。このとき医薬品は人々が健康面でいざというときのための社会基盤（あるいはセーフティネット）となっているといえ、その価値は保健基盤的価値、あるいは健康安全保障的価値と呼べるものだろう。なおこの価値は関連の社会システム等が整っていることで初めて具現化されるものであり、その価値の拡大・顕在化には、国際的な取り組みも必要となってくる。

2－（3）－② グローバルヘルスへの貢献

新薬創製は自由経済下、莫大な投資を伴う激しい研究開発競争の中から生み出され、上市後もその質的付加価値を高めるべく（あるいは次の新薬を生み出すべく）投資が継続される（ライフサイクルマネジメント）。そして一定の適正使用情報等を獲得した後、特許切れ（あるいはデータ保護期間切れ等）により当該薬がパブリックドメインに帰してからは新薬のデータ等を利用したジェネリックが製造販売される。新薬およびジェネリックが相まって多くの国・患者で適切に利用されるように提供が継続され、グローバルヘルスへの貢献につな

7) (参考) 厚労省「国際保健に関する懇談会」WG1 がまとめた「グローバル・ヘルスの体制強化：G7 伊勢志摩サミット・神戸保健大臣会合への提言」の冒頭で、「人間の安全保障」という表現が登場する。

『テロ、移民・難民問題、健康危機、気候変動や災害対応、といった多様かつ複雑に激変する世界情勢の昨今、国家安全保障とともに、個人や人々の生存・生活・尊厳を守ること、すなわち「人間の安全保障」を実現することこそが、国際社会が共同して行うべき最優先課題である。最近のエボラ出血熱、MERS、ジカ熱の流行に見られるように、地球規模の感染症は今後も発生することが予想される。そうした感染症がエボラ危機のような深刻な事態を招くことがないよう、各国政府・国際機関・民間セクター・市民社会などが一丸となって協力するグローバル・ヘルスの枠組みの強化が求められる。』

8) たとえば『2004年版厚生労働白書——現代生活を取り巻く健康リスク』によれば、国民が感じる健康リスクは高いものから順に、(1)生活習慣病を引き起こす生活習慣、(2)インフルエンザ、SARS(サーズ)(重症急性呼吸器症候群)、エイズなどの感染症、(3)大気汚染、水質汚濁などの環境汚染、(4)食中毒、BSE(牛海綿状脳症)などの食品汚染、(5)精神病を引き起こすようなストレス、(6)医療事故、(7)花粉症、アトピー、食物アレルギーなどのアレルギー、(8)災害や交通事故などの不慮の事故、となっており、病気に関連するものが上位にある。

がっている。

衛生状態や医療環境等に恵まれない国・地域の人々は、病気になるリスクへの懸念・心配が、先進国の人々に比べて深刻な状況にある。彼らの健康的な生活を支えることは、人道的観点とは言わずもがな、労働生産性（社会的生産力）の向上により（生産基盤等）国力を高めることへの寄与や、グローバル化に伴う新興再興感染症や風土病などの拡散の防止にもつながることが期待される。

国連 SDGs が掲げる 17 の目標のうち、「目標 3：あらゆる年齢のすべての人々の健康的な生活を確保し、福祉を推進する」とされている部分に相当すると考えられるが、そもそも健康が担保されなければ他の課題解決全体にもつながらないともいえるかもしれない。

現在、新薬を創製できる国は限られており、日本は米国に次ぐ 2 番手グループに位置する。低中所得国における医療／医薬品ニーズは新興・再興感染症の治療薬や予防薬はもとより、最近では NCDs（Non-Communicable Diseases、非感染性疾患）用薬にも広がっており、先進諸国と同様の疾患治療に対する医薬品ニーズが高まってきているとされる。当該各国の医薬品ニーズに応える支援活動は、各国国民の健康・医療の確保へ大きな役割を担っていると同時に、国（社会）としての健康リスクのコントロールに直接貢献しており、いわば当該国の社会基盤を支える力にもなっていると考えられる。

実際、低中所得国に蔓延する感染症については、各製薬企業が独自に、あるいは共同事業体（コンソーシアム）を組んで、予防薬や治療薬の開発が進められている。日本においては公益社団法人グローバルヘルス技術振興基金（GHIT Fund）が 2013 年に設立され、これらの感染症のための新薬開発（グローバルヘルス R & D）が進められている。これらの医薬品は創薬を行う先進国の国民には現時点で直接的恩恵はないものの、グローバル化や地球温暖化などによって当該感染症が自国国民の健康の脅威にならないとも限らない。よって、間接的には先進国国民の保健基盤的価値にもつながると考えられるかもしれない⁹⁾。

なお、製薬企業は社会における活動として、産業としての位置づけのなかで互いに競争し、イノベーションの成果としての新薬を生み出しているが、医薬品は創製された後は医療（実臨床）のなかでその価値が最大化されるべく利用されていくものになり、その基本は国民全体が享受すべき（ヘルスケア上の）安全保障としての位置づけになっていく。特に日本においては制度上、医療用

⁹⁾ 一方で、NCDs 用薬については創薬先進国の国民を対象に治験が行われ薬事承認された後、医療環境が整った実臨床現場においてさまざまな使用経験が積まれ、適正使用のためのデータが蓄積され活用されることで治療の最適化が図られている。これは、創薬企業の責務において研究開発投資を継続しながら実施されているものであり、育薬のための投資能力および知的財産権の保護が前提となっている。医薬品はくすりそのものに適切な情報が付加されてはじめて有効に機能することから、NCDs 用薬が創薬先進国以外の国で有効かつ安全に適正使用されるためには、上記で得られる十分な実臨床データを基に、当該国の医療提供環境等を踏まえて適用されることが欠かせない。

医薬品は上市後に価格が一方的に低下し続け、長い年月が経つと製品によっては製造原価割れの価格になっているものも存在するが、価格（の高低）と価値（の高低）は全く別の概念であることを十分認識しておく必要である。

繰り返しになるが、健康で文化的な生活を営むための社会インフラ、国民全体が享受すべき安全保障としての「社会的共通資本¹⁰⁾¹¹⁾」の要素として、医薬品は見えないながらも重要な役割を担い、価値を提供し続けているのである。

国連Sustainable Development Goalsとは

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research

- ◆ 持続可能な開発目標（SDGs）とは、2001年に策定されたミレニアム開発目標（MDGs）の後継として、2015年9月の国連サミットで採択された「持続可能な開発のための2030アジェンダ」にて記載された2016年から2030年までの国際目標。持続可能な世界を実現するための17のゴール・169のターゲットから構成され、地球上の誰一人として取り残さない（leave no one behind）ことを誓っている。SDGsは発展途上国のみならず、先進国自身が取り組む普遍的なものであり、日本も積極的に取り組んでいる。



目標3：あらゆる年齢のすべての人々の健康的な生活を確保し、福祉を推進する

10) 社会的共通資本：経済学者の故・宇沢弘文氏が提唱した概念。著書中で、『医療とは市場原理に基づいた「産業」ではなく、警察、消防と同じ、国民全体が享受すべき安全保障としての「社会的共通資本」である。』という記述がある。（岩波新書 新赤版 696、2000年11月20日）

11) 日本医師会 第三次 医師会将来ビジョン委員会答申「医療の今日的課題に対して医師会員は何をすべきか」（平成30年4月）の冒頭でも、『医療は、国民の生命と健康を守るための「社会的共通資本」である』としている。

第3章：医薬品の価値の多面性とは

前章で記したように、医薬品の価値には大きく3つのカテゴリーがあり、それぞれいくつかの構成要素がある。またこれらは必ずしも明確に区別されるものではなく、重複あるいは相関もある。さらに、各要素に対して個人（の信条）や立場によって価値観の違いが見られることがあることに注意が必要である。

第2章の冒頭で、医薬品の価値とは「病気の診断、治療、予防の実現に役に立つ重要な性質や程度」と記した。この意味では、前章の3つの価値のうち、（当然ながら）「医療的価値」がより根源的ものと位置づけられるため、本章では特に「医療的価値」について、いくつかの観点からその多面性を考えてみたい。

3－（１）「基幹的価値」（特に有効性と安全性）が包含する多面性

（例１）患者集団でみるか、患者個人でみるか

医薬品の“有効性”について議論する際には、いくつか前提を置く必要がある。例えば、薬事承認される際には、審査機関によって医薬品の有効性について評価されるが、ここでは「適切にデザインされた臨床試験結果から、対象集団における有効性がプラセボよりも優れていると考えられること」¹²⁾とされており、**患者集団として対照群と比べて統計的に有意に有効性が示されていることをもって、当該医薬品の有効性があると「決めている」**。しかしこのことと、特定の患者に対して当該医薬品が有効であることは、一致しないことがある。安全性についても同様で、**患者集団（マス）でみた場合の有効性や安全性と、特定の患者個人に対する有効性や安全性とは異なる場合がある**。

（例２）判定（評価）時点に由来する多面性

また、医薬品がその有効性を示すためには、通常服用開始から一定の期間が必要であり、その後の特定時点において有効性の評価（判断）が行われるが、その期間までの有効性（＋安全性）については評価されていない場合が多いと考えられる。これは、医師による診療の各時点の間の期間において薬効を測定できる技術や機会がない場合があることも一因であるが、患者における薬効の表れ方は個人毎に、また日々でも異なることがありうるため、**診療時点のみのデータ等では治療アウトカムが必ずしも正確に評価できていないことにつながる**。

（例３）立場の違いによる多面性

何をもって有効である、あるいは安全であるかについて、立場により異なることがありうる。医師の立場からは対象疾患に対する治療効果に基づく医学的

¹²⁾ PMDA「新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項」、平成20年4月17日

判断が基準になるだろうが、患者にとっては、通常の日常生活にどれだけ回復しているかを有効性の判断基準にするかもしれない。これは、**有効あるいは安全を測る「ものさし」の種類**（依拠する要素）と、**目盛あるいは水準**（どこからが有効あるいは安全であるとするか、など）が、**場合により異なると考えられるからである**。このことは、「くすりが効く」とはどういうことか、「病気が治る」とはどういうことか、という根本的な問いに行きつく。

（例4）モノとしてみるか、ソリューションとしてみるか

「モノとしての医薬品」では、当該医薬品を対象疾患の治療効果を潜在能力として具備する“モノ”として見ているということができる。この場合、**複数効能を持つ製品では、全効能を総合して考えることになる**。一方、「ソリューション」の場合は、特定の患者が当該医薬品を服用することで得る「治療アウトカム」として見ていることになるが、この場合には**効能別に「治療アウトカム」（≒医療的価値）が異なることになる**。

これまでは個々人の治療アウトカムについて、（仮のエンドポイントと真のエンドポイントの違いなどを含めて）技術的に評価が難しかったり、保険制度上インプット情報（投入資源、出来高）を重視する一方でアウトカム情報を集約して評価する仕組みが不十分だったということがあったが、**ICTやIoT、センシング技術などの技術革新により、これらの情報を特別の労力をかけずとも収集・評価可能になることが期待される**。製薬企業の立場からは、医師によるアウトカム評価などに加えて、リアルワールドデータ／リアルワールドエビデンス等も利活用してさらに当該医薬品の価値を高め続けていく必要があるだろう。そしてこれらの活動の中心に患者（が持つ課題）を位置付ける「**Patient Centricity**」の考え方をさまざまな機会、場面で実践していくことが、製薬企業はもとより医療全体として求められることであろう。¹³⁾

3－（2）「治療にまつわる要素」が包含する多面性

病気の治療にあたっては主に、病気の種類・特徴、患者の個性、治療目的・方法・特性の3つの要素（特徴）が関係すると考えられる。したがって、医薬品の効用は各要素の状態に応じて変わってくる可能性がある。

3－（2）－① 病気の種類・特徴＜原因側＞

質的違いとして例えば**病気の原因**（遺伝性疾患、加齢性疾患、生活習慣関連

¹³⁾ 「患者の声を活かした医薬品開発－製薬企業による Patient Centricity－」
製薬協医薬品評価委員会臨床評価部会資料（2018年6月）

疾患、感染症、その他のありふれた病気など)、**表現系**(運動機能、精神神経機能、内臓機能、感覚機能など)、病気の**重篤性**、病気の解明度／**治療の難易度**など、量的違いとして例えば**患者数**、疾患の**継続期間**／**要治療期間**などが挙げられる。

3－(2)－② 患者の個性＜反応側＞

体質＝ジェノタイプ(遺伝子型／特性)やフェノタイプ(表現型)の違いや、**既往歴・合併症、現在の体調等**に応じて、医薬品に対する反応性(治療効果等)が異なる可能性がある。患者一人一人にとっては同じ医薬品の使用でも得られる効用が異なることが考えられるため、罹患状況等の適切な診断を踏まえた医薬品の適正使用が必要となる。また、**年齢やライフステージ、人生観・価値観の違い等**によっても、健康や治療に対する考え方やニーズは異なると考えられる。

3－(2)－③ 治療目的・方法・特性＜介入側＞

一定期間の治療の末に**完治・寛解**が可能なのか、生活習慣関連疾患のように基本的に一生(亡くなるまで)服薬し続けることで**合併症を予防**するのか、認知症のような加齢性疾患のように、**症状の進行を遅らせる**のか、根本治療できない場合に対症療法として**症状を緩和**させる、あるいは疼痛緩和などで**日常生活の質低下を緩和**させるのか、(患者の尊厳のための終末期医療として)延命を求めるのか、さらには、感染症予防ワクチンのように**健常人対象に予防**を行うのかなど、多様な治療目的・特性が考えられる。

また、**侵襲性の高い治療の回避、入院治療からの解放＝在宅(通院)医療化、受診頻度の減少、個別治療度の向上**なども、質的あるいは量的向上の要素として挙げられる

さらに、ここには患者本人よりも家族などの介助(支援)者の負担軽減に資するためなど、患者本人以外への効用も含めて考えることもできるかもしれない。

3－(3)「医薬品そのものの性能」が持つ多面性

医薬品の持つ属性は治療の最適化を目指して構築されるものである。添付文書に記載される外形的項目である、組成・性状(添加物を含む)、効能・効果、用法・用量(投与経路、服薬頻度、投与期間、あるいは単味成分で有効か配合／組み合わせが必要かなど)や、**有効性・安全性・利便性などを高めるためのモダリティ・剤形等**や**品質、情報の種類や量**など、機能性・信頼性・利便性等や薬効を評価しやすくする工夫あるいはOTC化によるセルフメディケーションに求められる対応などの、さまざまな多面性が存在する。

第4章：医薬品の価値の評価とは 多因子性と困難さ

評価とは辞書的には「品物の価格を決めること」「事物や人物の、善悪・美醜などの価値を判断して決めること」の大きく2つの意味があるが、後者の結果が前者に結び付くと考えられる。本稿では前者「医薬品の価格を決めること」の前段として、後者「**医薬品の価値を判断して決めること**」という意味について考えることにする。

4-（1）顕在的価値と潜在的価値

医薬品の価値を考える際、これまでは医療的便益のうち、その本質的価値としての治療効果（疾病治療の効用部分）が専ら注目されてきた。薬の価格（公定価格、薬価）はその価値についての金銭的表現の一種であるが、その評価（値付け）の過程では治療効果に関する既存の類似治療薬との比較が基本とされている（類似薬効比較方式）。一方で、利便性の観点や、患者の日常生活（QOL）の改善という患者視点では治療効果とともに重要性が非常に高いとされる要素は、これまで評価が比較的限定的であったと考えられる。

また、社会的便益としての、患者や家族のさまざまな負担軽減や生産性の回復・向上（家族の付添等や通院・処方頻度の低下による時間的費用的負担軽減を含む）、医療提供者の業務効率化（工数削減・時間短縮等による生産性・安全性向上）などは、明らかに当該医薬品がもたらす効用であるが、薬価上はごく一部を除いて評価の対象外とされてきた。

上記の理由の一つとして、具体的な根拠が少なかったことや、客観的な評価方法が明確に存在しなかったことなどが考えられる。つまり「**見えない（見えにくい）価値**」であるがために、ともすればその意義が軽視され、特に薬価算定上は評価対象にされてこなかったとも考えられる。が、大切なものは往々にして見えない、測れないものなのではないだろうか。

しかしながら、これまでの「潜在的価値」が、センシングやデジタル化などの進化・発展を通じた新しい計測法の登場などの技術進歩や、関連データの蓄積・整備・連携・分析等によって、将来は主たる医療的効用と同様に「顕在化」する（見える）ようになると期待される。そうなれば、これまで評価されてこなかった「潜在的価値」も、「顕在化」することで評価が可能になると考えられる。

したがって、医薬品の価値の“ただしい”評価のために必要なこととして、これまで「見えなかった（見えにくかった）価値」をまずはできるだけ「見える化」し、その先として評価可能な状態へ持っていくことは、一つの考え方としてありうるだろう（第5章を参照されたい）。

とはいえ、医薬品の価値を実際に評価する場合には、評価の目的を明確にし、医薬品が持つ多種多様な要素のなかからその目的に合致した評価項目を選び、重みづけしながら評価に活かすことが必要になるため、個々の医薬品に対する絶対的な価値評価の解は存在しない。立場により（例えば 7P's）¹⁴⁾、そして究極は一人ひとりで異なる“価値観”の世界となることから、最終的には国民・社会のコンセンサスをベースにすることが適切であろう。その意味でも、国民に医薬品の価値とその多面性等について考えていただくための、価値の「見える化」が重要であるとともに、それでもなお、測れない価値や、定量化できない価値などがあることも、理解しておく必要がある。

本章では医療的効用に関する測定の観点、および、立場による評価基準の違いの観点を中心に記す。

4－（２）医薬品の価値の測定に対する困難性

4－（２）－① 効果をどう評価するか

医薬品の医療的効用（アウトカム）は一般的には、量的概念としての「生存期間（の延長）」と、質的概念としての「QOL（の改善）」の２つの軸で考えることができるとされている。後者の場合は疾病ごとに様々な健康上の不具合の種類（運動機能、精神神経機能、内臓機能、疼痛・掻痒などの感覚機能など）があることから、治療法ごとに効果の種類はさまざまであり、得られる QOL 改善の要素にも差があると考えられる。よって、直接比較が可能なのは、基本的に（広義の）同一疾患において効果が測定可能な場合に限られる。ただし、患者ごとに治療反応性に関する「個性」があるため、厳密にはこの調整も必要と考えられる。

異なる疾患間で比較する際に、疾患ごとの特徴をどう扱うかについては、さらに工夫が必要になる。その一つの手法として、（質的概念としての）各個別効用を代替指標を利用して１つの数値に落とし込んだものの一つが EQ-5D などの QOL 評価尺度であり、これに（量的概念としての）「生存期間の延長」を掛け合わせたものが QALY (Quality-Adjusted Life Years、質調整生存年) である（後段で詳述）。

4－（２）－② どうやって測定／見える化するか

医療的価値は、社会的価値や保健基盤的価値に比べれば各要素の効用が相対的に見えやすいと考えられるものの、例えば次のような難点が存在する。

- ・測定しやすい効用と、測定しにくい効用がある＜計測＞

¹⁴⁾ Patient、Physician、Pharmacist、Payer、Politician、Public、Pharma（順不同）

- ・ 定量化できる効用と、定量化が難しい効用がある＜数値化＞
- ・ 客観的に示せる効用と、客観的に示しにくい効用がある＜客観化／普遍化＞
- ・ 自覚できる効用と、自覚しにくい効用がある＜知覚＞
- ・ 短期的な効用と、中長期的な効用がある＜エンドポイント＞

4－（2）－②－a 「計測」

測るとは、「計器などを用いて数値を知ること」である。適当な計測機器がなかったり、計測のための適当なものさし・単位等がなければ、「測れない」ことになる。例えば、運動（身体）機能は比較的測りやすいが、精神神経機能は測りにくい。また、真のエンドポイントの内容によっては（特に短期的に）計測が困難なものも考えられ、その場合は仮のエンドポイントを用いて評価の代用とすることがある（4－（2）－②－d）。

4－（2）－②－b 「定量化」

定量化とは「一般的に質的に表現されている事物を数値を用いて表すこと」、あるいは「対象の状態を連続する数値の変化に着目してとらえること」である。例えば痛みや精神状態といった感覚機能や意識のようなものは、スコア化まで可能かもしれないが、連続する数値での表現は現状では難しいかもしれない。

4－（2）－②－c 「客観化」「普遍化」

客観的とは「特定の個人的主観の考えや評価から独立して、普遍性をもっていること」。したがって、例えば痛みなど本人にしかわからない対象に対して個人の感覚に基づき申告・評価する限り、客観的とはいえないことになる。

4－（2）－②－d 「治療過程」（エンドポイント、効用／目的の定め方など）

当該疾病の治療が長期間にわたる場合、その途中経過にも目を向ける必要がある。中長期的将来に「病気が治る」ことが効果として期待される場合であっても、治療継続の間に患者の生活に著しい不具合を生じさせることはできるだけ避けなければならないだろう。例えば、従来の抗がん剤によるがん治療などにおいては、医療の側からは、最終的にがんを消失（縮小）させることができれば（医学的には）目的達成となるが、患者の側からはそれに至るまでの QOL の状態も重要である。患者の立場からは、日常生活の質が治療でどれだけ改善されるのか（あるいは副作用などが少ないか）についても治療効果とともに評価が必要と考えられる。

4－（２）－②－e 「知覚」「認識」

本人が自覚できる効用と、自覚しにくい効用がある。例えば、高血圧症、高脂血症、糖尿病、高尿酸血症などのいわゆる生活習慣病（含・予備軍）の場合には、検査値異常の改善としては効果が測定できるものの、**患者本人には健康上の不具合が顕在化していない（知覚できない）こともあり、治療の意義が感覚的に理解しにくいことにつながり、服薬アドヒアランスに悪影響を与えるかもしれない。**また、心筋梗塞や脳梗塞などの再発予防のための治療の場合は、一度大きな健康障害を経験していることになるが、時とともに治療の意義についての意識・理解が徐々に低下してしまうおそれもある。

一方、ワクチンなどの予防薬の場合には、健康なときに将来の罹患予防のために処置を受けることになるため、病気に関する知覚・意識は全くない。よって、感染症予防接種に際しては、当人や家族にその意義を十分説明し、ご理解いただくプロセスが必要となる。

4－（２）－③ 価値を評価するために必要なことは？

上記をまとめると、価値を評価するためには、対象を「ただしく定め」、「ただしく捉え」、そして「ただしく測る」ことが必要条件（前提）になるであろう。

「**ただしく定める**」とは、評価の対象とする要素（因子）を疾患や治療法・治療薬の特性に応じて適切に定めることを意味する。基幹的価値（有効性・安全性）は当然として、その他の医療的価値や社会的価値、保健基盤的価値に属するさまざまな要素（因子）について、当該疾患治療においてどのような要素（因子）を評価すべき対象に位置付けるのかということになるが、後述の通り、立場による評価基準や優先順位等の違いが考えられることから、立場を越えた共通の評価を行うためには、関係者が十分に議論した上でのコンセンサスが必要となる。

「**ただしく測る**」には、上記で定めた評価対象要素（因子）を適切な手段を用いることで、4－（２）－②で記したように、測定→定量化→客観化（普遍化）までできるのが理想であり、換言すれば可能な限り「科学的」であることが望ましいが、これが難しい場合にどのように測るのがよいのか、例えば疾患毎に「決めて」いく必要がある。

「**ただしく定め**」、「**ただしく測る**」後に、「**ただしく評価する**」ための一つの手法として、多基準決定分析（Multi-Criteria Decision Analysis, MCDA）がある。考え方や手法自体は明確といえ、透明性の確保には有意義と考えられる一方、実際の評価にはその問題点や限界を十分理解した上で活用する必要があり、慎重かつ丁寧な検討が求められる。

なお、患者と医師等の間での情報の非対称性にまつわる問題や、治療に際し

て求めるものの優先順位の考え方などに応じて、価値の捉え方や評価の基準等が異なる可能性もありうる。この点については、次に触れることにする。

4－（３）医薬品の価値の評価に対する困難性（立場による評価基準の違い等）

4－（３）－① 価値判断のための前提として知っておくべきこと

医療的価値の一つの考え方として、医療の目標に対する効果の程度（貢献度）でみるというものがある。医療の目標は前記の通り、生存期間の延長・維持とQOLの向上・維持の大きく2つの軸として考えられる。生存期間は生命の「量」として、QOLは生命の「質」として考えることができ、これらを2次元で表した場合に医療介入で得られる面積の増加分が当該医療の価値とみなせるというもので、**質調整生存年（QALY）**が「効果」の指標として国際的によく使われる。

生存期間の延長は、臨床試験において対照群と比較（介入）群での差として捉えることができるが、実臨床における患者一人ひとりへどれだけ効果があるのかは測定困難である。また、若年者の1年と高齢者の1年を同じものとして考えていいのかという問題もある。一方、QOLは適切な指標を定めることにより、同一患者において治療前と治療後における差を調べることができる。QOL指標としては、疾患の特徴（個別効用）を踏まえた疾患独自の指標（例：関節リウマチのQOL評価として、HAQ（Health Assessment Questionnaire）と、疾患の種類に依存しない共通の指標（例：EQ-5D（EuroQol 5 Dimension））があり、疾患横断的な比較には後者が用いられるが、指標の要素が疾患間で偏りが無いとは必ずしもいえないかもしれない。

さらに、「効果」を「金銭的表現」に変換する際には、さまざまな前提条件が必要となる。例えば異なる疾患の治療に関して比較する場合には、各疾患に対する治療効果の重要性をどう考えるかなど、評価者の価値観（Willingness to Pay＝支払意思額を含む）が影響を与えることになる。評価者の立場によって、どのような内容を重視するのかは異なると考えられる。

本章冒頭部分の繰り返しになるが、医薬品の価値を実際に評価する場合には、評価の目的を明確にし、医薬品が持つ多因子性のなかからその目的に合致した評価要素を選び、重みづけしながら評価に活かすことが必要になるため、個々の医薬品に対する絶対的な価値評価の解は存在しない。立場により（7P's）、究極には一人ひとりで異なる“価値観”の世界となることから、最終的には国民・社会のコンセンサスを基本にすることが適切であろう。その意味でも、国民に医薬品の価値（の多面性）について、特に「見える化」が難しい価値の要素のなかにも重要な価値があることについて、正しく理解いただくことが必要だろ

う。

4－（3）－② 安全性（副作用等）に対する重要性の考え方の違い

患者は一般に治療の過程において、日常生活の改善度をより重視する傾向が高いといわれており、副作用等の重さが服薬アドヒアランス（治療継続率 *persistence* と、治療遵守率 *compliance*）に大きな影響を与えるといわれている。診察の間の期間における、副作用を含む有害事象の発現状況については、今のところ正確に把握するのが難しいが、アドヒアランスや治療満足度の向上のためには、副作用等をいかに軽減させるかが今後一層重要となると考えられる。

医薬品には現在のところ、副作用はある程度避けられないものとの認識が一般的であるが、個の医療の実践あるいは 5R's¹⁵⁾の追求によりこれを相当程度少なくしていくことは可能と考えられる。医師は診療時の患者への問診や各種検査等で医薬品の有効性や安全性を評価しているが、診療時以外の情報についてはなかなか正確に把握するのは現状では難しいことが多い¹⁶⁾。患者から副作用について相談を受けても、根拠となる診療データが十分取れていない場合には、当該医薬品そのものの問題なのか、用法・用量（服薬アドヒアランスを含む）の問題なのか、患者の体質の問題なのかなど、診断がつきにくいことになる。そこで、PHR（Personal Health Record）¹⁷⁾等を利用して患者の体調を継続的に測定・蓄積し、診察時にこれを評価できれば、医師は十分な患者情報を基に治療の質向上を図ることができるようになると考えられる。医師は病気を治す（生命を守る）医療を基本に治療を考えるが、患者は日常生活を取り戻す（QOLを守る）医療を望む。患者の立場として QOL を優先した医療のほうを重視することに鑑みれば、QOL を低下させる副作用等の安全性の要素について、より高く評価される必要があるのではないだろうか。

なお、費用対効果評価の考え方などについてここで詳細に踏み込むことは避けるが、QOL のような基幹的価値である有効性の部分についてさえ多因子的概念が含まれ、他の医療的価値や社会的価値、保健基盤的価値ではさらに広い多因子性が包含されることに鑑みれば、（繰り返しになるが）評価対象とする医薬品ごとにこれが持つ多面的価値の各要素のなかでどのようなものを重要視し、どのような評価基準で比較し評価していくのか、（いわゆるアプレイザルにあた

¹⁵⁾ 5R's：投薬の事故防止のために推奨されている 5 つの項目。Right Patient～正しい患者、Right Drug～正しい薬、Right Dose～正しい用量、Right Route～正しい用法、Right Time～正しい投薬時間。これに Right Purpose～正しい目的を加えて 6R's という場合もある。

¹⁶⁾ 例えば、患者に日常の状態についてスコアリングさせる場合には、どうしてもスコアリングバイアスがかかるといわれている。

¹⁷⁾ PHR：個人が自らの健康に関する情報を自己管理の下に集約・累積した記録のこと。またはこのような情報集約化を実現するツールやシステムをいう。

<参考> Personal Health Record の活用（政策研ニュース No.50、2017 年 3 月）ほか

って) 患者代表も参加したかたちでの極めて慎重かつ丁寧な議論が必要であろう。その際には、当該医薬品のアクセスが不当に阻害されることがあってはならないのが最も優先して考慮されるべきことであり、費用対効果評価はこれを踏まえた上での社会的コンセンサスが必要である。

4－(3)－③ 患者にとっての医薬品の価値を考える

第1章冒頭で記した通り、患者の立場から医薬品の価値を考える場合、患者自身にとっての最善は、「より有効に、より安全に、より速く効き、より確実に効き、より短期間に治療完了」し、「より使い勝手よく、より低い経済的負担で、(いつでもどこでも) 必要なときに、安心して」使用できることであり、**医薬品を用いた治療の結果、健常な日常生活を取り戻すことが、最終到達目標となるのではないか**。その場合、病気の種類によって患者が被る不具合(解決したい課題)が異なり、したがって**医薬品が提供する多因子的効用のなかでの優先順位も、適応症ごと、疾患ステージごと、あるいはライフステージによっても異なる可能性がある**。究極は患者ごとに医薬品の価値が評価されるべきなのかもしれないが、いまだ個の医療が実現できていない病気が主流である状況においては、例えば**適応症ごとに、医薬品の価値評価のために重視する要素や重みづけについて、当該疾患の専門家(関係学会など)と患者団体などを含めた検討を通じてコンセンサスを得ていく**というのも、一つの方法としてありうるのではないだろうか。Patient Centricityに鑑み、ここでもラウンドテーブル方式での丁寧な議論・検討の必要性を改めて指摘しておきたい。

世代毎の疾病構成の違い

○ 年代ごとに通院理由となる最も気になる傷病はさまざま。

	0～4歳	10～14歳	20～24歳	30～34歳	40～44歳	50～54歳	60～64歳	75歳以上	全体
1位	急性鼻咽喉炎 (かぜ)	アレルギー性 鼻炎	アトピー性皮 膚炎	うつ病やその 他のこころの 病気	その他	高血圧症	高血圧症	高血圧症	高血圧症
2位	その他の皮膚 の病気	その他	その他	その他	うつ病やその 他のこころの 病気	糖尿病	糖尿病	腰痛症	糖尿病
3位	アトピー性皮 膚炎	骨折以外のけ が・やけど	その他の皮膚 の病気	アトピー性皮 膚炎	高血圧症	その他	脂質異常症 (高コレステ ロール血症 等)	糖尿病	腰痛症
4位	その他	アトピー性皮 膚炎	うつ病やその 他のこころの 病気	腰痛症	腰痛症	腰痛症	腰痛症	眼の病気	その他
5位	喘息	喘息	腰痛症	その他の皮膚 の病気	その他の皮膚 の病気	脂質異常症 (高コレステ ロール血症 等)	眼の病気	狭心症・心筋 梗塞	眼の病気
6位	耳の病気	その他の皮膚 の病気	アレルギー性 鼻炎	肩こり症	肩こり症	うつ病やその 他のこころの 病気	関節症	関節症	脂質異常症 (高コレステ ロール血症 等)
7位	アレルギー性 鼻炎	眼の病気	肩こり症	妊娠・産褥 (切迫流産、 前置胎盤等)	糖尿病	肩こり症	その他	その他の循環 器系の病気	うつ病やその 他のこころの 病気

※歯の病気、エラー（不詳）は除いている。

出典：H28国民生活基礎調査・健康・通院者数から各年代の頻度の高い最も気になる傷病を年代を抜粋しリスト化

出典：中央社会保険医療協議会総会（平成 31 年 3 月 27 日）

第5章：測定と評価のイノベーションに向けて：医薬品の価値の評価に有用な取り組み事例

本章では、主に医療的価値の評価に資すると考えられる取り組みについて取り上げる。4－（2）－③「価値を評価するために必要なこととは？」で、「ただしく定め」、「ただしく捉え」、「ただしく測る」必要性を述べたが、本章では特に「情報をつくる」「見える化する」ことをカギと位置付けたい。

5－（1）薬効測定の質的量的時間的拡大＝革新的な薬効測定技術の実用化

医薬品の効果は、医薬品が患者に対して作用を与える結果表れるものであり、その作用は医薬品側の特性と患者側の特性の各々に依存する。

現在の通常の内科的治療では、必要に応じて血液検査などの検査結果を参考に、医師が問診をして医薬品の効果が把握され評価されて、次の治療に活かされるが、患者は当然、常時医薬品の効果や副作用の影響を受けている。薬の効果や副作用は、患者のその時々体調等に、また当然ながら服薬アドヒアランスに影響される場合があるが、現状では診療時以外（診療と次の診療の間）の正しい情報は一般的に得にくく、この部分が効果等の「見えない」領域になっている。

この谷を埋める方法の一つとして、バイタルセンシング技術を応用したマイクロセンサー等のデバイスと、スマートフォン等を利用したインターフェースを組み合わせたシステムによる、**患者の健康状態の継続的測定と蓄積（データ化）**が挙げられる。患者の全般的な QOL や疾患に関係する体調の不具合状況について、測定技術や情報通信技術などの進歩でこれらの継続的な測定が可能になると考えられる。例えば、血糖値を非侵襲的に測定する装着型装置と PHR を組み合わせることで、糖尿病患者の血糖レベルを連続的にモニタリングできるようになり、治療薬の効果を正しく評価可能になると期待される¹⁸⁾。

加えて、もともと測定が難しい薬効（あるいは副作用）を測定できるようにする研究が進められている。身体的機能については、運動 ADL（日常生活動作）としてある程度（患者自身でも）測定することが可能になっている（→Patient Reported Outcome）が、認知機能（認知 ADL）など精神的機能については患者自身での測定は難しい部分があり、他人の評価者によるスコアリングなどでも限界がある。認知機能の測定と評価に関して、生理機能（バイオマーカー）での代替評価や心理学その他の関連学問の応用、AI・ICTなどを応用した測定法・評価法の開発など、課題解決に向けてさまざまなアプローチが考えられる。

¹⁸⁾ 例として、Flash Glucose Monitoring (FGM) システム（「FreeStyle リブレ」（アボット社）など）が挙げられる。これにより、血糖管理が「点」から「線」へと変わることになる。

最近では精神神経機能について非侵襲的に計測し評価しようとする研究も進められているとのことである¹⁹⁾²⁰⁾。

5－（２）リアルワールドデータ（RWD）の活用

よほどの希少疾患でない限り、当該疾患の治療薬を服薬している患者の数は相当数に上るはずである。しかし、それだけの数の実臨床の場での治療実績がありながら、当該薬の適正使用のために把握され活かされているデータは必ずしも十分とはいえない。一部の疾患における先進的取り組みを除き、治療実績は診察医師／医療機関のカルテ情報として蓄積されていても、その医師あるいは医療機関以外の診療情報と連結されていない場合が現状では多く、情報が“宝の持ち腐れ”状態にあるといえよう。

これらを統合し、5－（１）で得られる情報も組み合わせて分析利用できるようになれば、これまで埋もれていた治療に関する多数の情報が「見える化」され、医師の診断結果、医薬品および用量の選択、効果や副作用の状況、処方変更などの情報を製薬企業が利用して、さらに有効で安全な薬とするための使用方法等についての研究を進めやすくなると期待される。これにより、医薬品の価値をより高める（そだてる）ことが可能になると期待され、保険者などの立場では、RWD を活用した当該医薬品の実臨床における評価が可能になると考えられる。

5－（３）Patient Reported Outcome の活用（QOL 評価の質向上に向けて）

いわずもがな、医療の受益者は患者であるが、情報の非対称性あるいはリテラシーなどの理由で、これまで多くの場合、医師が評価の代行者として機能してきた。医薬品の効用（薬効）について、患者にとってはその評価のやり方が難しい、あるいはわかりにくいということがその一つの理由として考えられる。しかし、医薬品の価値を患者の立場から考えるためには、患者自身が適切に薬効を測定でき評価できれば、一番直接的な価値評価となるはずである。そのため
の考え方や実施方法に関するコンセプトが「Patient Reported Outcome」（PRO）であり、患者中心の医療にも結びつくものである。「Patient Reported Outcome」は製薬企業の創薬と育薬、治験（臨床開発）および市販後段階のそれぞれで利用が考えられる。²¹⁾

¹⁹⁾ 例として、声帯の不随意反応に着目し、声の周波数の変動パターン等から心の状態を分析する MIMOSYS®(Mind Monitoring System)がある。不随意反応を見ているため、自記式でのレポーティングバイアス（被検者の意識・無意識による過小評価）なく、本人の心の状態を正確に把握することができるのが MIMOSYS®の大きな特長とのこと。

²⁰⁾ 筑波大学の山海嘉之教授が提唱するサイバニクス(Cybernetics : Cybernetics + Mechatronics + Informatics)のさまざまな領域における社会実装も、UMN 充足への期待が大きい。

²¹⁾ 「患者の声を活かした医薬品開発—製薬企業による Patient Centricity—」（日本製薬工業協会医薬品

ポイントは、患者にとっての薬効（効用）をどのように考えるかと、どのようにこれを評価可能なものにできるか、だろう。日本では審査や評価過程における PRO に対する規制当局の考え方が示された指針などは未だ発行されていないが、患者の主観的評価である PRO を有効性の主要評価項目に設定している事例として、疼痛、皮膚疾患、インフルエンザなどがある。PRO が“馴染む”評価項目として、疼痛や掻痒（かゆみ）、あるいは眠気やめまい（平衡感覚不調）などの感覚や意識などに関連する要素が挙げられるが、これらはまさに QOL と直結するものであり、患者の立場における医薬品の効用が QOL 向上であれば、必要に応じて PRO を積極的に利用していくべきであろう。そのための体制整備について、欧米に遅れることなく進めていく必要があるだろう。

以下、OPIR リサーチペーパー No.64「Patient-Centered の促進に伴う Patient Reported Outcome の新薬開発への適用に関する研究」から、関連部分を引用する。

「患者の主観が大きく影響し、医師が定量的に判断しにくい項目は、PRO の対象になりやすいと考えられ、その代表的な対象として、QOL がある。従って、PRO と QOL の関係は、評価方法としてのツールとその代表的な対象物の関係となり、前者が PRO、後者が QOL である。概念の定義としては、QOL の方が困難であり、科学的に統一されていない様々な定義が存在する概念であると言える。QOL の中には、しばしば人生観や宗教など含めた、いわゆる生きがいや幸福といった概念まで含まれることがあり、患者の価値観といったものが何に根差しているかが評価に大きく影響してくることもある。一方、QOL のうち、医薬品の有効性あるいは有用性評価に関連してくる部分を取り出し、「健康関連 QOL」と定義することで、介入医療（新薬等）の評価に関わる部分をクローズアップすることができる。健康関連 QOL は医薬品の臨床評価における重要なアウトカムであり、患者中心医療の原動力となっている。」

「治験に用いるため、PRO をバリデートするためのガイドライン、ガイダンスが日本にはないことが、受け入れの困難性を高めていると考えられる。」

「近年、PRO は特に欧米で注目度が高いが、PRO にもそれを取り巻く状況に多くの課題が残されている。その一つが、健康関連 QOL 評価である。現在、QOL 評価ツールとして、SF-36 や EQ-5D といった一般状態をユニバーサルに評価する指標を使うことが多いが、各病態の対象患者にとって、QOL すなわち病気と共に生活していく上での“質”を評価するのにこれらの指標が最も適切な指標であるとは限らないことである。病態毎に最も適した指標を確立していくと同時に、患者個々の価値観をどのように反映させていくのかを十分検討して、新薬の評価に活かしていくことが更に求められると考える。また、疾患

によっては真のエンドポイントが不明確であったり、治験の中で評価することが難しいものもあり、ある特定の疾患の「症状改善」の指標として、評価可能で最適な評価方法・評価項目を確立していく必要がある。この場合、**PRO** と医師による評価を重みづけなどにより総合的に評価するべきか、いずれかの評価に重点を置くべきかなど様々なケースについて検討することが必要となろう。」

第6章：医薬品のさらなる価値創出と向上（最大化）のための今後の課題

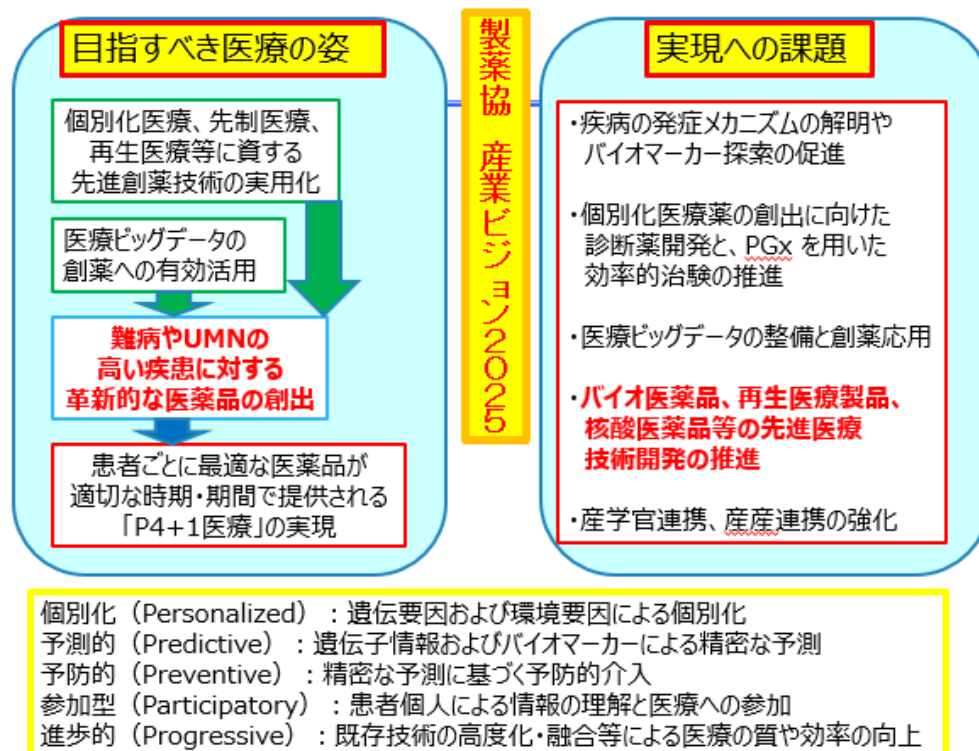
6－（１）これからの創薬イノベーションのあり方とは

製薬企業がこれから進めていく活動として、アンメット・メディカル・ニューズ（UMN）を充たす新たな治療法を提供する新薬の開発が最重要なのは言うまでもないが、これに加えて、生み出した新薬が各対象患者にとって「より有効に、より安全に、より速く効き、より確実に効き、より短期間に治療完了し、より使い勝手よく、より低い経済的負担で、(いつでもどこでも) 必要なときに、安心して」使用できるような継続的努力も求められる。その結果が**個の医療の実践につながり、医薬品の価値が最大化されることになるからである。**

イノベーションとは、新しい手段で社会に役立つ新しい価値を生み出すことである。創薬において「新しい手段で」とは「新しい治療法・予防法を患者に提供可能にする新薬の創製を通じて」であり、「社会に役立つ新しい価値を生み出すこと」とは、「医療・健康的価値の増加に寄与すること」といえるだろう。すなわち、**創薬イノベーションとは、革新的医薬品創製を通じて治療法・予防法を進化させ、今まで達成できなかった（治療満足度の低い）医療上の課題を解決することで、患者の健康・医療上の目的（効用）を達成すること**となるであろう。医療的価値のみならず社会的価値や保健基盤的価値にもつながる創薬イノベーションこそ、引き続きわれわれ製薬産業が担い実現していくべきものであろう。

革新的医薬品は、疾病治療の本質に関わる生命医科学（Medical Science）と治療効果を発揮する媒体としての「くすり」を作り上げる創薬技術（Pharmaceutical Technology）の至適な融合で創製されるが、これまで解決できなかった困難な課題を解決するためには、新しい治療コンセプトの創出や有用な新モダリティの開発・実用化などとともに、今後は関連する他産業などとの連携も必要となってくるだろう。2016年1月に発表された「製薬協 産業ビジョン 2025」ではこれらの実現に必要な取り組みとして、「先進技術の積極的な利活用と、既存技術の高度化を合わせて、創薬を進化させ、患者の理解のもと、患者ごとに最適な薬を先制医療を含めた適切なタイミングで提供すると

いう次世代医療（P4+1医療）へ貢献する」とされている。



出所：「製薬協 産業ビジョン 2025」を基に筆者作成

2030年の社会貢献ビジョン;健康・医療

重要 破壊的イノベーション※による健康長寿社会の実現

※:「イノベーションのジレンマ」(1997, Clayton M. Christensen)で提唱された考え方

- ・最先端のバイオに加え、ICT/IoT、ナノテク、ロボット工学等が融合した製品・技術からなる新たな基幹産業群が成立し、高齢者・障がい者が社会参加する健康長寿社会が実現している。
- ・健康・医療分野で地球規模の課題に貢献する国家となっている。

イノベーションの推進

- ・破壊的イノベーションを生み出す独創的で多様性に富む研究開発の産学官による推進。

医薬品(革新的創薬ターゲット、バイオマーカー含む創薬技術)、医療機器(ジャパニバイオデザイン等による推進)、新治療法(再生医療、遺伝子治療等)

・予防・介護技術の開発推進/情報の統合
 ICT/IoT(Society5.0)、診断技術、ヘルスケア・介護機器、機能性食品、各種ヘルスケア・介護サービス等

AMED
PMDA

日本型イノベーションエコシステムの構築

- ・優れた研究成果が次々に産業化されるための産官学が連携した仕組みの構築と推進。(以下例示)

・アカデミア:医師主導治験推進、TLO再構築、起業家教育推進
 ・既存企業:アカデミア・ベンチャーとの連携や産産連携の推進
 ・民間支援組織:教育ツール・メンター制度・アライアンスの推進
 ・公的支援組織:支援組織間の連携促進、民間キャピタル育成
 ・行政:税制や予算の充実に伴うベンチャー投資の促進
 ⇒企業・ベンチャーでイノベーションが次々に生れ育つ仕組み構築

AMED: 日本医療研究開発機構、PMDA: 医薬品医療機器総合機構

健康・医療をとりまく環境の整備

- ・医療・介護の効率化・生産性向上の推進、個別化医療の推進、パーソナルデータの利活用(パーソナルヘルスレコード、医療等ID)
- ・個々人の健康(疾病)状態を判断する統合医療情報システム(医療ビッグデータ解析、ゲノム等オミックス解析、診断技術)の構築、
- ・病気からの早期社会復帰・健康寿命の延伸により、すべての国民が社会活動に参加できるコミュニティの構築

2030年に予想される日本の課題(例)

- ・後期高齢者:約2千万人、介護費用:20兆円
- ・平均寿命は2年延伸、健康寿命延伸が課題
- ・医薬品・医療機器の輸入超過の拡大
- ・国民皆保険制度が事実上破綻する恐れ

2030アジェンダへの貢献

SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS

3 すべての人に健康と福祉を

6 安全な水とトイレを世界中に

健康・医療戦略本部「平和と健康のための基本方針の決定」(2015年12月)
 ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ(UHC)推進

出所：進化を続けるバイオ産業の社会貢献ビジョン（日本バイオ産業人会議、2016年3月）

創薬イノベーションの具体的プロセスを考える場合、これまでは主に新しい技術そのものが自動的に市場を形成してきたことから、技術突破（ブレイクスルー）中心・技術ドリブンで考えられてきた。一方、新技術の開発難度が高まる一方で医療市場における医薬品に対するニーズも多様化し、特に患者中心の医療を考えた場合、疾病の治療効果とともに患者の“生活の質”をいかに高めるかにより注目する必要がある。その場合には**具体的な日常生活改善への効用のあり方や患者が求める効用などについて、疾患毎に（患者とともに家族等の支援者も含めた）受益者の立場になってアプリケーションの対応をしていく必要がある**だろう。その意味で、これまでの技術ドリブン創薬時代の「上市まで」を中心とした破壊的イノベーションの考え方に加えて、上市後の患者が得る真の価値に想いを馳せ、**医薬品の真の価値を育てていく漸進的イノベーション**の考え方も必要となってくる。ここで課題となってくるのが、たとえば以下の要素である。

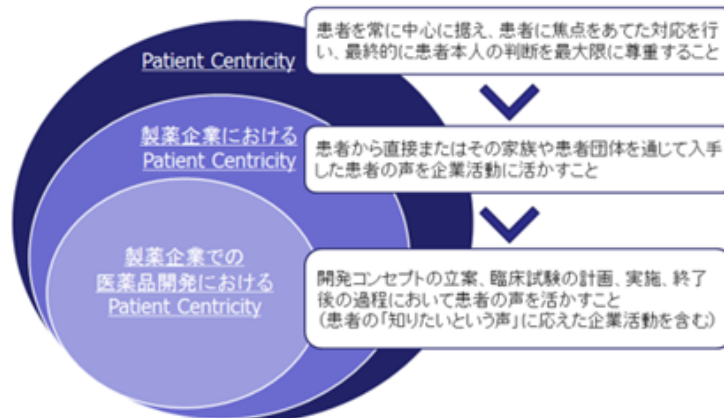
- ・ 真のエンドポイント評価のための新しいバイオマーカー等の開発／臨床検査値（バイオマーカー）と、現在あるいは将来の症状の間のリンク
- ・ 治療過程における QOL 改善に関する情報の把握（副作用等の低減も含む）／QOL の改善効果を含めた治療アウトカムの測定方法
- ・ 治療に関するリアルワールドデータの把握方法と分析利用のあり方
- ・ 精密医療（的確な医療）に向けての新しい薬効評価手法や統計解析手法の開発

以下では第5章で記した、評価に関する内容以外のものについて整理する。

6－（2）キーワードは「患者中心の医療」「患者参加型医療」

6－（2）－① 患者中心の医療（Patient Centricity）

私たちが考える Patient Centricityの定義



出典：患者の声を活かした医薬品開発のために—国内外の現状を踏まえて考えること—

第 129 回 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 総会（2017 年 11 月 22 日）

「製薬協 産業ビジョン 2025」にある通り、P 4 + 1 医療は患者の理解のもと、患者ごとに最適な薬を先制医療を含めた適切なタイミングで提供することを目指しており、創薬における基本的考え方が、一定範囲の疾患多様性を包含した多数患者からなる患者層をターゲットとするマスメディシンから、精密医療²²⁾への転換が示されている。（マスメディシン開発にあたっては、企業側が設定する治験条件に合致するごく一部の患者の協力を、医療機関を通じて求めているが、）精密医療の実現のためには患者一人ひとりの病態関連情報や治療効果（有効性や安全性）に関する情報などを、できるだけ連続的かつ正確に測定し把握する必要がある。そのためには技術的な対応とともに、患者による治療に対する正しい理解に基づく協力が不可欠である。そのためのキーコンセプトが「患者中心の医療＝Patient Centricity」であり、技術的な要素として例えば「Patient Reported Outcome（PRO）」の利用が挙げられる。

「信託としての個別的医療」→「病院中心型の医療」→「個人の治療への主体的参加」×「地域で支える医療」という医療の流れのなか、病院中心時代における Hospital-based Medicine（医学的目的の達成に基づく病院医療＝「命を守る医療」）との対比において、Patient Centricity、Patient(Life)-based Medicine（患者の人生の選択を尊重する地域（社会）医療）においては、「生命」「生活」「人生」の3つの Life の向上など「患者その人の人生にとっての望ましい状態」「生活（QOL）を守る医療」が志向されるだろう。

²²⁾ 6－（3）－②－a を参照されたい。

6－（２）－② 患者（ステークホルダー）との対話を通じた相互理解・協力・信頼関係の向上

日本の医療の世界では、パターンリズム（医者にお任せの医療）は過去のものとなりつつあり、インフォームドコンセントあるいはインフォームドチョイス／シェアードディシジョンメイキングとして、個々の患者が考える自分の病気の治療方針（治療目的や、治療過程において重要と考える効用など）を示すことが基本となってきた²³⁾。また、Web 情報など医療や医薬品に関する情報に患者自身で容易にアクセスできる環境になってきている。このような状況は患者の治療における自立性を高め、これまで以上に治療アウトカムを患者自身が重要と考えるようになるであろう。

そして、精密医療の実現のための医薬品開発には、これまで以上に患者の理解と協力が必要となる。

このような中で、製薬企業／製薬産業は、真の顧客（消費者）である患者とのつながりを、新薬研究開発においても実臨床の段階においても深めていかなければならない。言い換えれば、B to B (to C) ビジネスの色が濃かった製薬産業は、B to (B to) C、場合によっては B to C (Direct to Consumer) で考えていかなければならない。そのためには、適切なルールに基づいて、患者団体等や関連の医療学会等と連携や協力を図っていかなければならないだろう。患者の声（薬効・副作用情報をはじめ、医薬品に関する各種の改善要望など）を新薬開発や既存薬の改良に結び付けていければ、全てのステークホルダーにとって、その医薬品の価値は高まるだろう。ただし、P 4 + 1 医療の推進にむけた環境変化に対して法規制の面で必ずしも十分対応しきれていない部分もあり、国民的議論も踏まえて適時適切に改善していく必要があるだろう。

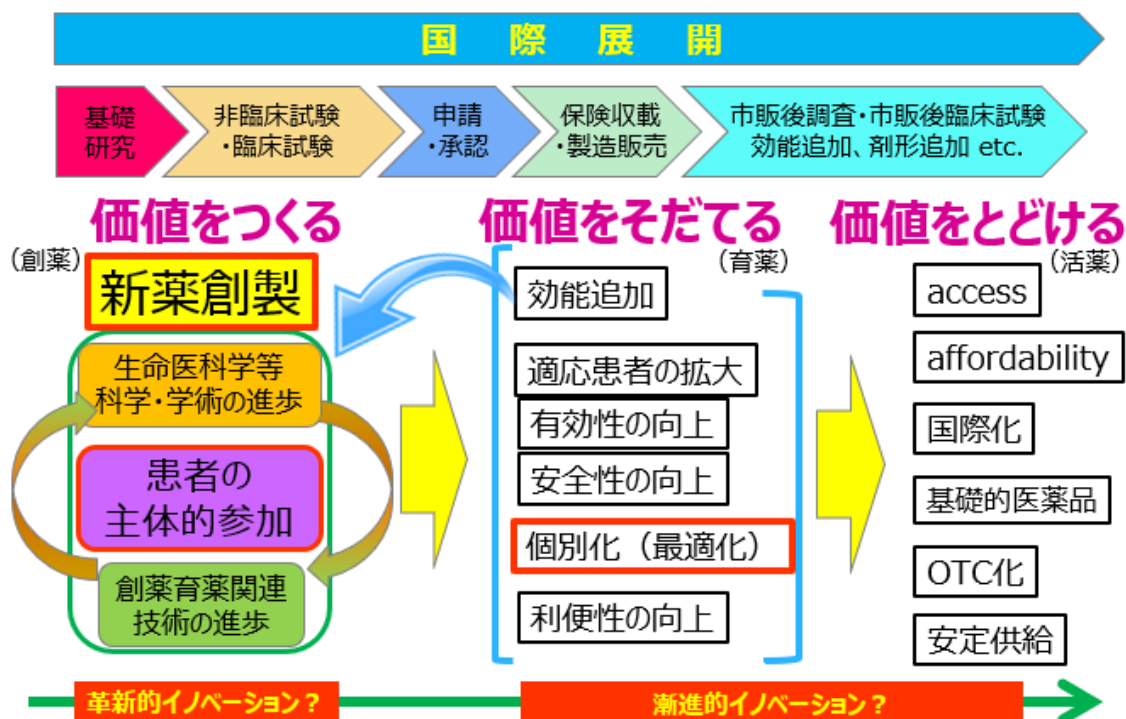
6－（３）新たな創薬イノベーションに向けて

6－（３）－① 創薬バリューチェーン：価値をつくる、そだてる、とどける

²³⁾ 患者の意思に基づき、医者にお任せする医療に結果的になることは、当然ありうる。

医薬品の“価値の連鎖”

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research



医薬品のライフサイクルを創薬バリューチェーンに重ね合わせてみると、研究開発活動の成果として新薬を創製し上市（実用化）し、さらに研究開発を進めて効能追加を行う「価値をつくる」（創薬）フェーズ、上市後の臨床試験や RWD 活用を含む市販後調査等による患者・疾患の実臨床における多様性や適正使用等への対応、精密医療に向けた治療の個別化への対応、剤形改良等を通じた安全性や利便性の改善などの「価値をそだてる」（育薬）フェーズ、製造コスト低減やグローバルリーチ拡大、OTC 化などを通じたアクセシビリティとアフォordabilityの改善、そして人類の健康を支える保健基盤的医薬品としての継続的安定的提供までを含めた「価値をとどける（いかす）」（活薬）フェーズの3段階を通じて価値の拡大が図られ、最終的に価値の最大化が達成されることができる。その駆動力になるのは創薬関連科学・技術の進歩・深化、製薬産業の活動の進歩・深化、医療・診断技術の進歩・深化、そしてグローバルイノベーションに伴う公益的ニーズへの積極的対応などであり、これらの実現する上で基本的で不可欠な源泉が、医薬品の価値に対する適正な経済的評価²⁴⁾である。

²⁴⁾ 経済的評価としては「価格（薬価）」以外の評価手法も考えられるかもしれないが、本稿ではこれ以上は踏み込まないことにする。

なお、製薬企業がよく用いる、“モノとしてのくすり”のライフサイクルの場合には、新薬として上市された時点でくすりのポテンシャルは確定しており、市販後に内包する潜在価値を顕在化させていくことを意味するが、“ソリューションとしてのくすり”のライフサイクルの場合は、新薬として上市された時点は価値創製の段階で、市販後におけるさまざまなソリューションの付加・拡張によって価値が伸展していくことを意味する。本稿では後者の観点で説明している。

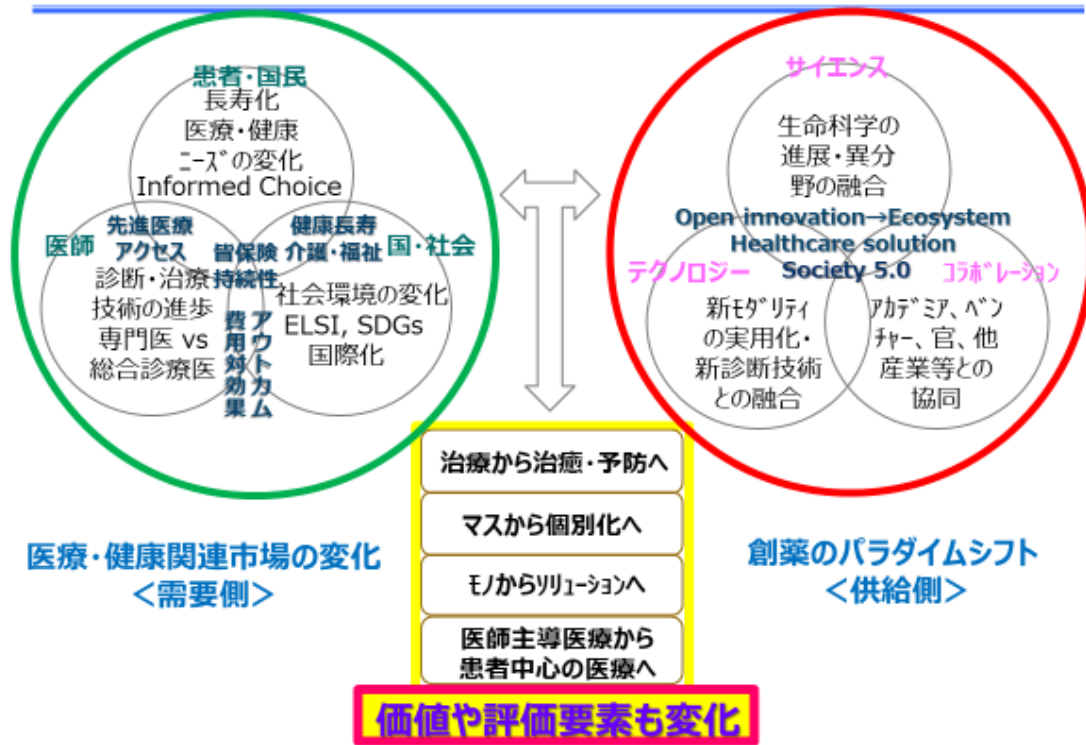
そしていわずもがなであるが、医薬品の価値と価格は別のものである。一般財と同様、汎用化が進んだ結果多くの対象患者が使用できるように低価格になった薬剤でも、その価値自体は高いことは、当該薬が多くの患者に利用され続けていることから、自明のことである。

6－（３）－② これからの医療／医薬品の役割と方向性

医療市場（需要側）の変化としては、患者・国民の医療ニーズの変化・多様化、医療現場における治療・診断技術の進歩、長寿化や社会保険財源問題など社会環境の変化などがある。一方、医薬品産業（供給側）の変化では、対象とするサイエンスの深化＋領域拡大と学際・融合化、新モダリティの実用化や新診断技術との融合、アカデミアやベンチャー、さらに他産業等とのコラボレーションの拡大などが挙げられる。さらに両者共通の変化としては、創出されてくる各種データの質向上と量的拡大に対応した統合的活用などが挙げられるだろう。これらは結局、「製薬協 産業ビジョン 2025」で述べられているような「P4＋1 医療」、すなわち、予防・先制医療を含めた個別化医療の実現への方向性を示していると考えられる。

環境変化を踏まえた今後の医薬品の役割とは

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research



出典：筆者作成

医療のあり方の中期的な変化

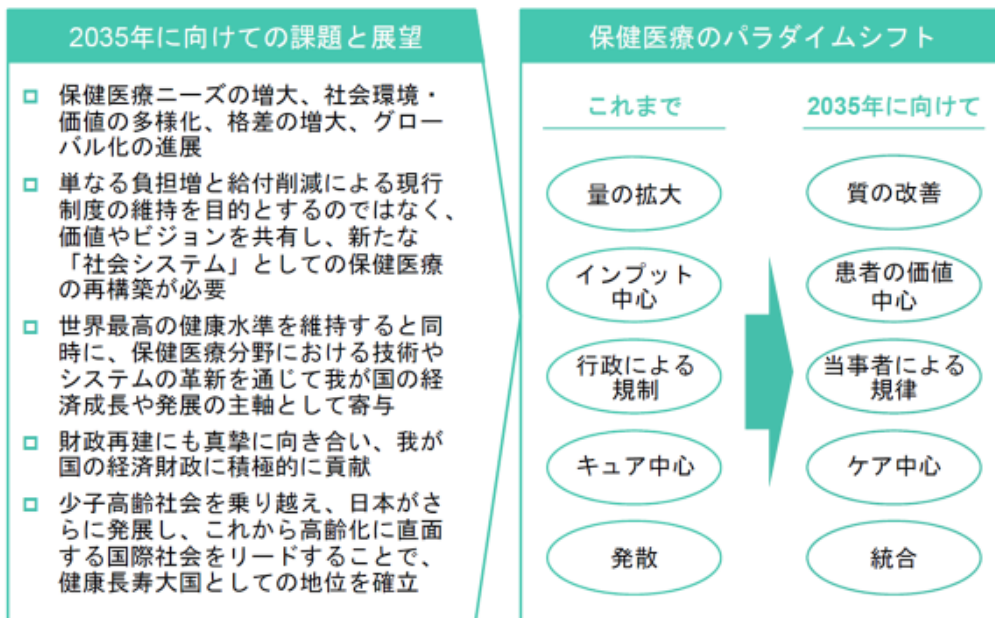
OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research



出典：AMED「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」報告書（2018.03）

これから20年後の社会と経済の変化に対応するため、パラダイムシフトが必要

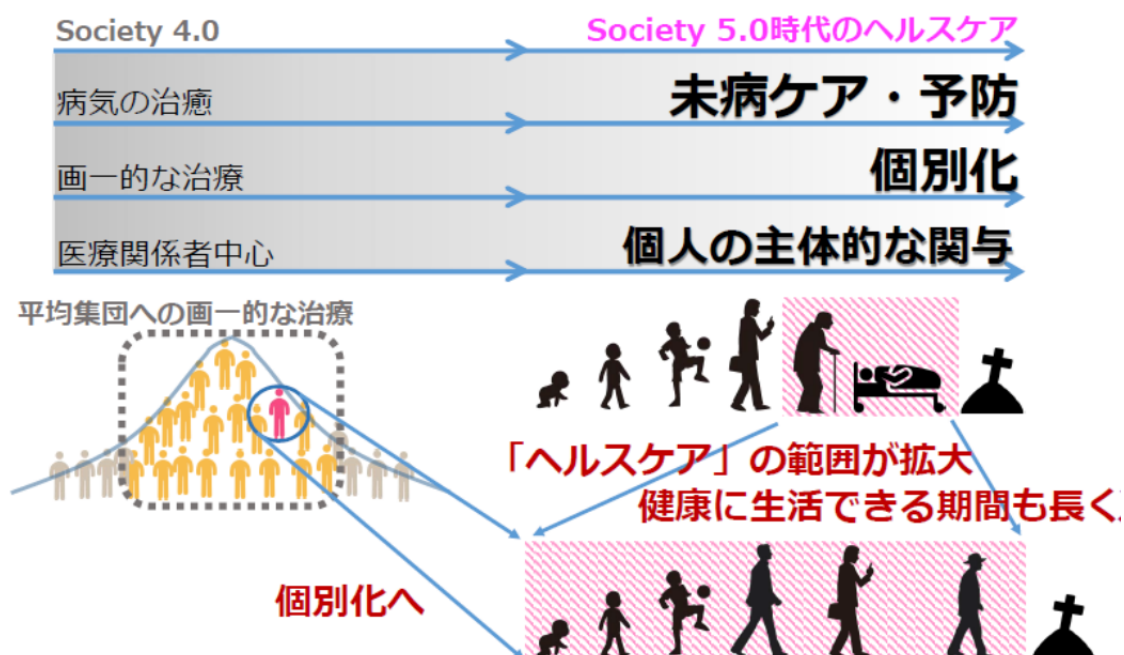
保健医療
2035
SOCIETY 5.0



出所：厚生労働省「保健医療 2035」（2015 年 6 月）

ヘルスケアの姿

Keidanren
Policy & Action



出典：Society 5.0 時代のヘルスケア（日本経団連、2018 年 3 月 20 日）

6－（３）－②－a 医薬品の理想像は「個の医療」の実現

これまでのマスメディシンは、いわば着物に体を合わせる使い方（one-size-fits-all）であったが、個々人の体質も体調も病態もヘテロ（多様）であり、それぞれの状況に適した医薬品およびその使用が、医療の有効性や安全性の面でも、効率性や経済性の面でも、優れていることは論を待たない。このような的確な医療の表現として、「Precision Medicine（精密医療）」や、「Personalized Medicine（個の医療）」などがある（それぞれ言い方、考え方は現時点で統一されていない）²⁵⁾。つまるところ、望ましい医療の姿は様々な疾患に対するこれらの医療の実現であり、この理想像に対しては現在の医療や医薬品は依然として多くの課題（≡Unmet Medical Needs、UMN）を有している。このギャップを埋めることこそ、今後の製薬企業および医療提供者など医療関係者全体が実現していかなければならないことであり、これから新たに生み出される（生み出すべき）価値もこの中にあるはずである。

6－（３）－②－b デジタル化等、アウトカム評価に関する技術的観点

第5章でも記したが、創薬研究開発や治療応用における治療効果の評価に際して、投薬中の患者の健康状態の経過をできるだけ連続的かつ正確に測定し、適切に活用することが求められる。この課題の解決法として、携帯端末などIoT・ICT技術を利用した薬効等測定技術の開発が一部の対象疾患で進められている。これも、精密医療の実現に重要な要素であり、医薬品の立場からは、治療効果のフィードバックを基に患者ごとに適切な用量の設定や安全性情報の活用などに利用できる。これまで測定できなかった、診察と診察の間の期間における有効性・安全性情報²⁶⁾が利用できれば、その間の患者のQOL情報なども正確に捕捉できるため、これまで見えていなかった生活改善効果を評価可能になると期待される。さらに、患者の日常活動について情報が得られれば、患者や家族に関する社会的価値の見える化も期待され、医薬品の価値のさらなる見える化にもつながると期待される。

6－（３）－②－c 医療ソリューション範囲の拡大（予防医療、先制医療など）

医療は、正確な診断→適切な治療法（医薬品）の選択と使用→医学的効用の評価→次の治療方針の決定というPDCAサイクルを回すことで成立している。

²⁵⁾ 例えば、国際医療福祉大学未来研究支援センターの山崎力氏は、Precision Medicine 誌において、EBMとは「個々の患者の疾患予防、治療に関わる意思を決定するために、最新かつ最良のエビデンスを、一貫性を持って、思慮深く用いること」、precision medicine とは「EBMを進める中で、最先端科学の手助けのもとで、より正確、より精密に個々の患者にエビデンスを適用すること」としている。(Precision Medicine Vol.1 No.1 p.10, 2018)

²⁶⁾ 30 ページの5－（１）を参照されたい。

これまでは基本的に、検査データ等を利用しつつ医師が知識と経験に基づき診断と治療法の選択を担ってきたが、その一部機能については AI を含む ICT で代替可能なものもあると考えられる。医療ソリューション全体のなかでの効率性や資源の適正配分などの議論も必要と考えられる中、医薬品そのものの以外に治療に必要なソリューションの提供について、他産業やアカデミアなどとの協業を通じて積極的に進めていく必要があるだろう。

また、これまでは主に病気に罹ってから対応する治療薬が開発されてきたが、そもそも人は病気に罹りたくない、健康でいたいはずである。良好な健康状態を保ち、病気になりそうになっても未然に防ぐためには、予防医療や先制医療への取り組みが重要になってくる。いわゆるオミックスやバイオマーカーなどの研究および RWD の活用が進めば、予防医療や先制医療に資する情報や技術も蓄積されてくると期待される。いわゆる加齢性疾患（認知症やがんを含む）は先制医療の対象になりやすいと考えられ、国民からの期待も大きい領域だろう。

6－（３）－②－d コストからバリューへ

予防医療や先制医療への取り組みは、コストとしての医療費からバリューとしての健康投資へのパラダイムシフトとして考えることができる²⁷⁾。病気に罹ってからの治療は、マイナスの健康状態を（最高でも）ゼロに戻すためだけのものであり、健康が維持されていれば必要のないコストとなるが、いわゆる未病段階での先制医療ならば、負の健康状態が顕在化する前に将来のコストを防ぐとともに社会への貢献活動を維持するための投資と考えることができる。社会保障費の削減とともに、健康寿命²⁸⁾の延伸や個々人の３つの Life（生命、生活、人生）への満足度の上昇が期待される。

27) 首藤健治 神奈川県副知事「神奈川県のヘルスケア・ニューフロンティア政策の取組と今後の方向性について」（医療経済研究機構「医療経済研究会」、2018年9月6日）

28) 現行の健康寿命の指標は、「日常生活に制限のない期間の平均」（及び「自分が健康であると自覚している期間の平均」）とされており、本稿７ページに記すように、身体的要素・精神的要素・社会的要素を総合的に包含していることから、「健康」という状態を表す指標としては妥当と考えられる。（健康寿命のあり方に関する有識者研究会報告書、2019年3月28日）

＜おわりに：今後の課題など＞

本稿では医薬品の価値について、医療的価値、社会的価値、保健基盤的価値の大きく3つの価値として整理したが、詳細な検討と整理は主に医療的価値に関する内容に留まっている。医薬品の一義的な価値は医療的価値にあることから、まずはここから改めて整理をする必要があるとの考えに基づくものではあるが、医療的価値においても基幹的価値（機能性＋信頼性）以外の支援的価値（利便性＋易利用性）の部分については詳細な検討は十分ではなく、社会的価値や保健基盤的価値については大枠としての概念に留まっている。上記の点を含め、以降の検討課題として例えば以下のようなことが考えられる。

- ・医療的価値以外の社会的価値、保健基盤的価値の明確化と評価基準の整理
- ・価値の「見える化」の方法（具体的な取り組み事例および将来展望等）
- ・価値の測定方法と評価方法に関する詳細検討
- ・各立場における医薬品の価値評価に関する優先順位の考え方の整理

これらを別の切り口で表すと、『価値を定める』→『価値を測る』→『価値を評価する』という流れと考えられることから、これらの枠組みを用いてどのような検討と整理ができるか、今後の課題の一例となろう。

『価値を定める』

「医療的価値」「社会的価値」「保健基盤的価値」の詳細明示,3つの Life

- 現在「捉えられている価値」と「捉えられていない価値」の整理
- これらについての価値要素の洗い出しと（可能な限り）見える化

Value Chain、Product Lifecycle Management との対応

『価値を測る』

「医療的価値」「社会的価値」「保健基盤的価値」の各要素の測定法の検討
価値の評価軸（ものさしの種類）と目盛りの考え方

異なる疾患間でも測れる医療的価値の測定方法の再整理（QOL／PRO など）

『価値を評価する』

定量的対象（サイエンス）と、定性的対象（アート）

Multi-Criteria Decision Analysis の適用について

立場の違いによる考え方の違いの整理と適用について

「価値」と「価格」や「保険償還額」等の整理

＜補遺＞創薬イノベーションの評価軸に関する一考察

創薬イノベーションの価値については、薬価制度に関する議論のなかで継続されているものであるが、薬価算定ルールからひとまず離れて、当該薬が社会に対してどれだけのインパクトを与えるかという視点から、私案として整理してみた。当然ながら、エキスパートコンセンサスルールである「薬価算定ルール」にある項目とかなり共通するが、現時点で加算評価の対象とされていない要素も含まれる。

（１）UMN に資する程度（医療的効果）の高さ

- ・新しい治療手段の創出（～first-in-class）
- ・臨床上的有用性向上（～best-in-class）
- ・難病、希少疾患、小児など（～Therapeutic Orphan）

創薬による新しい治療手段の創出が、当該疾患の治療法・体系の刷新をもたらすことが最も革新性の高い創薬イノベーションだが、経済的にインセンティブが働きにくい疾患領域・対象への新薬創製も重要。また、臨床上的有用性向上は「漸進的イノベーション」として適切な評価をされるべきものであろう。

（２）期待される効果（経済的効果、社会的効果）の大きさ

- ・経済価値で評価できるもの（受益者数・市場の大きさ、医療費・介護費等への効果、雇用・労働生産性への効果など）⇒極力定量的に評価する。
- ・経済価値で評価できないもの（安全、安心、幸福、満足度、利便性など）⇒定性的、相対的評価を工夫する。

→→→本稿で述べている「価値の多面性」そのもの。

（３）緊急性・社会要請度の高さ

- ・（例）感染症・パンデミック対応、NTDs（解決されていない熱帯性疾患）、AMR（薬剤耐性対応）、グローバルヘルスへの貢献

これらについては市場環境が先進国とは異なるなど、通常の経済的評価にはなじみにくいものであり、社会的価値や保健基盤的価値に基づくイノベーションが考慮された上で評価されるべきであろう。

（４）（他の治療手段（モダリティ、医薬品以外の治療手段等）との役割分担を考慮した上での）医薬品として提供する必要性・適切性の高さ

治療や予防といった医療上の目的を踏まえて、（広義の）医薬品として創製され提供されることについての合理性が、しっかり評価されなければならない。

謝辞：

本リサーチペーパーの内容は、製薬協医薬産業政策研究所主宰で2018年前半に開催した、製薬協横断的研究会である「医薬品の価値研究会」において、下記の委員会・メンバーより提供いただいた情報を基に議論した内容を基礎として、その他のさまざまな情報を追加しつつ筆者の責任においてとりまとめを行ったものである。記して感謝したい。

「医薬品の価値研究会」参加委員会および参加メンバー

(敬称略、順不同、肩書は2018年初の研究を発足当時)

草開 義隆	産業政策委員会 産業振興部会 部会長 (武田薬品工業)
折田 正弥	産業政策委員会 イノベーション推進部会 部会長 (アステラス製薬)
大滝 浩之	医薬品評価委員会 運営委員 (エーザイ)
中谷 知弘	医薬品評価委員会 運営委員 (協和発酵キリン)
兵庫 淳志	バイオ医薬品委員会 政策実務委員会 委員長 (第一三共)
浅田 誠	バイオ医薬品委員会 政策実務委員会 委員 (エーザイ)
平井真以子	知的財産委員会 国内・海外政策、特許期間延長、知財 F (武田薬品工業)
高鳥登志郎	研究開発委員会 専門副委員長、創薬研究部会 部会長 (第一三共)
吉永 芳博	患者団体連携推進委員会 副委員長 (大塚製薬)
佐藤 孝徳	国際委員会 グローバルヘルス部会 (武田薬品工業)
Ben Wilson	国際委員会 グローバルヘルス部会 (武田薬品工業)

《事務局》

森田 正実	医薬産業政策研究所 統括研究員
廣實万里子	医薬産業政策研究所 主任研究員
枡田 竜育	医薬産業政策研究所 主任研究員 (2018年4月より)
田村 浩司	医薬産業政策研究所 主任研究員【研究会主幹】

主な参考文献等（敬称略、順不同）：

1. 「医薬品の価値」政策研リサーチペーパーNo.20（2004年07月）
2. 「新薬の価値を反映する薬価制度－申請価格協議方式の提案－」
政策研リサーチペーパーNo.28（2005年07月）
3. 「Patient-Centeredの促進に伴う Patient Reported Outcomeの新薬開発
への適用に関する研究」政策研リサーチペーパーNo.64（2015年3月）
4. 「医薬品の価値を考える～政策研「医薬品の価値研究会」における検討より
～」政策研ニュース No.55（2018年11月）
5. 廣實万里子 政策研ニュース No.52～No.56
6. 「医療健康分野のビッグデータ活用研究会報告書（No.1～No.4）」
医薬産業政策研究所（2016年～2019年）
7. 「製薬協 産業ビジョン 2025」日本製薬工業協会（2016年1月）
8. 「製薬協 政策提言 2019」日本製薬工業協会（2019年1月）
9. 「患者の声を活かした医薬品開発－製薬企業による Patient Centricity－」
製薬協医薬品評価委員会臨床評価部会（2018年6月）
10. 「治験における Patient Reported Outcomes～臨床開発担当者のための PRO
利用の手引き～」製薬協医薬品評価委員会データサイエンス部会タスクフ
ォース7（2016年6月）
11. 「ベネフィット・リスク評価 中級編 多基準決定分析への招待－その理論と
事例－」製薬協医薬品評価委員会データサイエンス部会タスクフォース1
（2013年6月）
12. 「医薬品の価値の科学的な評価－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解説－」製薬協医薬品評価委員会データサイエンス
部会タスクフォース3（2016年4月）
13. 製薬協国際委員会「グローバルヘルス」HP
<http://www.jpma.or.jp/globalhealth/>
14. 製薬協国際委員会「世界の現状と取り組み（Infographics）2018」
http://www.jpma.or.jp/globalhealth/status_effort/2018.html
15. IFPMA「50 Years of Global Health Progress」
<https://50years.ifpma.org/>
16. 「進化を続けるバイオ産業の社会貢献ビジョン～新たな基幹産業の創出と
地球規模の課題解決に向けて～」日本バイオ産業人会議（2016年3月）
17. 「バイオによるイノベーションの推進と社会貢献に向けて～バイオ戦略への
提言～」日本バイオ産業人会議（2018年2月）
18. 「Society 5.0－ともに創造する未来－」（日本経済団体連合会、
2018年11月13日）」<http://www.keidanren.or.jp/policy/2018/095.html>

19. 「医療の今日的課題に対して医師会員は何をすべきか」
日本医師会 第三次医師会将来ビジョン委員会 答申（2018 年 4 月）
20. 「日本の医療のグランドデザイン 2030」
日本医師会総合政策研究機構（2019 年 3 月）
21. 「社会的共通資本」 宇沢弘文（岩波新書 696、2000 年 11 月）
22. 「医療経済の嘘 病人は病院で作られる」 森田洋之
（ポプラ新書、2018 年 6 月）
23. 「医者への逆襲」 里見清一（新潮新書 750、2018 年 1 月）
24. 「賢い患者」 山口育子（岩波新書 1725、2018 年 6 月）
25. 「医の希望」 斎藤英彦 編（岩波新書、2019 年 3 月）
26. 「薬価の経済学」 小黒一正（編著）、菅原琢磨（編著）
（日本経済新聞出版社、2018 年 7 月）
27. 「医療経済的手法による医療技術評価を考える（第 1 回～第 6 回）」
鎌江伊三夫（医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス、
43(1),2012～44(1),2013）
28. 「厚生労働省新 HTA 制度（第 1 回～第 7 回）」 鎌江伊三夫
（医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス、48(2),2017～50(3),2019）
29. 「QOL の正しい評価方法を学ぶ」 下妻晃二郎
（第 14 回浜松オンコロジーフォーラム、2014 年 4 月）
30. 「医療における QOL/PRO 評価と応用の現状、展望、課題」 下妻晃二郎
（医療・ヘルスケア分野におけるアウトカム評価研究会、2019 年 1 月）
31. 「Patient Reported Outcome (PRO) と PRO-CTCAE について」
山口拓洋、川口崇、宮路天平（ファルマシア、Vol.54 No.3, 2018）
32. 「特集：抗体医薬は医療に何をもたらしたか」
（日経メディカル 2018 年 6 月号）
33. 「保健医療 2035 提言書」（厚生労働省「保健医療 2035」策定懇談会、
平成 27 年 6 月）
<https://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/shakaihoshou/hokeniryou2035/future/>
34. 「保健医療分野における AI 活用推進懇談会報告書」（厚生労働省、
平成 29 年 6 月 27 日）<https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000169233.html>
35. 「未来イノベーションワーキンググループ 中間取りまとめ」
（厚生労働省、平成 31 年 3 月 19 日）
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-rouken_520284_00004.html
36. 「健康寿命のあり方に関する有識者研究会報告書」（厚生労働省、
平成 31 年 3 月 28 日）https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_04074.html

37. 「産業構造審議会 2050 経済社会構造部会」(経済産業省)
38. 「明るい社会保障改革研究会」報告書(自由民主党、平成 31 年 4 月 11 日)
39. 「健康・医療情報の利活用に向けた民間投資の促進に関する研究会」
(ヘルスケア IT 研究会、経済産業省)
40. 「国立保健医療科学院 保健医療経済評価研究センター」HP
<https://c2h.niph.go.jp/>
41. 「中央社会保険医療協議会 費用対効果評価専門部会」HP、同「費用対効果
評価専門部会・薬価専門部会・保険医療材料専門部会合同部会」HP
42. 「制度化の一步先を行く費用対効果／価値評価」国際医薬経済・アウトカム
研究学会(ISPOR)日本部会 2018 年度シンポジウム(2019 年 3 月 29 日)
43. 「医薬品の価値と創薬イノベーション—外部性とインセンティブ」
医薬産業政策研究所 設立 20 周年記念ワークショップ(2019 年 3 月 18 日)

なお、これら以外にも様々な方々から貴重なご助言や有益な情報等を多数頂戴した。記して感謝したい。

(了)

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 2-3-11 日本橋ライフサイエンスビルディング 7F

Tel: 03-5200-2681 Fax: 03-5200-2684

<http://www.jpma.or.jp/opir/>