

# ヘルスエコシステムと製薬産業

## －イノベーション評価と薬価制度の課題－

坂巻 弘之

一般社団法人 医薬政策企画 *P-Cubed* 代表理事  
神奈川県立保健福祉大学 シニアフェロー

# 自己紹介

- 1978年 北海道大学薬学部卒業
- 1992年 慶應義塾大学大学院 経営管理研究科修了 修士（経営学）／MBA
- 1979～98年 国内外製薬企業、食品企業医薬事業部に勤務
- 1999年 慶應義塾大学医学部 医療政策・管理学教室 助手
- 2000年 医療経済研究機構 主席研究員・研究部長
- 2006年 慶應義塾大学大学院 医学研究科 博士（医学）  
医療科学研究所 客員研究員  
名城大学薬学部 臨床経済学研究室教授
- 2014年 東京理科大学経営学部教授
- 2019年 神奈川県立保健福祉大学大学院ヘルスイノベーション研究科 教授(2024年3月退官)
- 2024年1月 一般社団法人 医薬政策企画 P-Cubed 設立、代表理事**
- 2024年4月 神奈川県立保健福祉大学 シニアフェロー**

# 一般社団法人医薬政策企画 *P-Cubed*

## Pharma Policy Planning *P-Cubed*

3

当法人は、定款に定めた医薬品ならびに医療機器、再生医療等製品、健康産業等の産業政策（以下「医薬政策」という。）に関わる調査・研究の実施ならびに調査・研究の支援、情報提供を行うことを目的とし、その目的に資するため、次の事業を行う。

- (1) 医薬政策および医薬政策に関わる医療経済学、生物統計学、医薬統計学等の調査、研究の実施（医薬政策研究事業）
- (2) 企業等が実施する上記調査、研究の企画・コンサルティング並びにコーディネート（コンサルティング事業）
- (3) 医薬政策に関わる国内外情報の収集と発信（情報発信事業）
- (4) 医薬政策の調査・研究スキル向上ならびに知識の普及を図るための教育事業（教育事業）
- (5) 上記に付帯または関連する一切の事業（その他の事業）

## 医薬政策に関わる情報コンシェルジュ Pharma Policy Planning P-Cubed



[www.pcubd.jp/](http://www.pcubd.jp/)

海外医薬品の不足情報・医薬政策情報等をデイリーで発信中



### 諸外国不足状況【毎日更新】

- 📅 2025.01.06 [ドイツ]  
[BfArMボトルネックレポート\(2024年12月30日～2025年1月5日\)](#)
- 📅 2025.01.06 [フランス]  
[ANSMフランス供給不足情報\(2024年12月30日～2025年1月5日\)](#)
- 📅 2025.01.06 [オーストラリア]  
[TGAオーストラリア供給不足情報\(2024年12月30日～2025年1月5日\)](#)
- 📅 2025.01.06 [米英]  
[ASHP供給不足情報\(2024年12月30日～2025年1月5日\)](#)
- 📅 2025.01.06 [米英]  
[FDA供給不足情報:新規\(2024年12月30日～2025年1月5日\)](#)

[一覧を見る >>](#)



### 供給関連情報【毎日更新】

- 📅 2024.12.16  
[英国でメマンチンの価格が上昇](#)
- 📅 2024.12.13  
[デンマークを含む北欧の入札制度:AMGROS](#)
- 📅 2024.12.10  
[EMA、不足緩和に関するガイドラインを発表](#)

Active ingredients	Dosage form	Quantity of active ingredients	Shortage status	Availability	Reason	Last updated
paclitaxel	Injection, concentrated	6 mg/mL	Current	Limited Availability	Manufacturing	3/01/2025
galantamine hydrobromide	Capsule, modified release	10.252 mg	Anticipated	Available	Manufacturing	3/01/2025
galantamine hydrobromide	Capsule, modified release	30.756 mg	Current	Limited Availability	Manufacturing	3/01/2025
galantamine hydrobromide	Capsule, modified release	20.504 mg	Current	Unavailable	Manufacturing	3/01/2025
azithromycin dihydrate	Tablet, film coated	524.05 mg	Current	Limited Availability	Manufacturing	3/01/2025
buprenorphine	Drug delivery system, transdermal	5 mg	Current	Limited Availability	Manufacturing	3/01/2025

諸外国不足状況【毎日更新】





# 医薬品不足情報をお知らせください

[詳しくはこちら](#)



## 海外医薬品の不足情報・医薬政策情報等をデイリーで発信中



### 諸外国不足状況【毎日更新】

📅 2024.12.16 [フランス]

[ANSMフランス供給不足情報\(12月09日～12月15日\)](#)

📅 2024.12.16 [ドイツ]

[BfArMボトルネック・レポート\(12月09日～12月15日\)](#)

## 医薬政策情報

ホーム > 医薬政策情報

費用対効果・高額医療技術・薬価

医療費・薬剤費

医薬品開発・医療Dx

バイオ・バイオシミラー

ジェネリック医薬品

サプライチェーン・流通

医療機器

薬局・薬剤師

その他

研究レポート

📅 2024年12月29日 [ 薬局・薬剤師 ]

[FDA、非処方薬の種類を拡大する最終規則を発表](#)

📅 2024年12月24日 [ 費用対効果・高額医療技術・薬価 ]

[米国CMS、メディケア薬価交渉プロセスを公表](#)

📅 2024年12月24日 [ 医薬品開発・医療Dx ]

[英国CGTカタパルト、ロンドンカレッジ大とCAR-T製造技術提携](#)

📅 2024年12月24日 [ 費用対効果・高額医療技術・薬価 ]

[米国保健社会福祉省、メディケア処方薬インフレリポートプログラムにより64処方薬のコスト削減を発表](#)

📅 2024年12月24日 [ 医薬品開発・医療Dx ]

[アツヴィ、アストラゼネカ、テバがPhRMAを脱退](#)

📅 2024年12月23日 [ 医薬品開発・医療Dx ]

[【論文】米国とカナダにおける医薬品アクセスの違い](#)

📅 2024年12月23日 [ 費用対効果・高額医療技術・薬価 ]

[ISPOR機関誌"Value in Health"最新号は、希少疾患の費用対効果評価](#)

The screenshot shows a browser window displaying the P-Cubed website. The page features a navigation bar with links for 'P-Cubed について', '供給情報の仕組み', '供給不足情報', and '医薬政策情報'. The main content area is titled '製薬会社、研究者、医療機関の皆さまへ' (Dear Pharmaceutical Companies, Researchers, and Medical Institutions). Below the title, there is a paragraph explaining the benefits of becoming a supporting member, such as receiving detailed pharmaceutical information, joint research, and consulting. A prominent button labeled '賛助会員の詳細・お申込みはこちら >>' (Details of Supporting Members and Application Here) is visible. To the right, there is an illustration of a man in a suit pointing upwards. The footer includes the P-Cubed logo, contact information, and a privacy policy link.

# 骨子

0. 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会
1. 2024年度薬価制度改革、2025年度薬価改定
2. ヘルスケアエコシステムと製薬産業
3. ヘルスケアエコシステムにおける薬価制度
4. イノベーション評価のあり方
5. Affordabilityからの課題：薬剤費（医薬品支出）の問題



# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会





# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 議論のポイント：日本の医薬品産業の課題

## 先発医薬品

### 課題

- 革新的医薬品が日本において上市されない

- **革新的創薬に向けた環境整備**
  - \* 創薬エコシステムの構築促進
  - \* バイオ医薬品・再生医療等製品の製造
  - \* 医療情報・AIの活用
  - \* 臨床試験の効率化・承認審査の迅速化
- **薬価政策**
  - \* 制度の不確実性
  - \* 収載時の薬価算定の在り方
  - \* 企業の予見可能性の確保
- **産業構造／ビジネスモデル**
  - \* 長期収載品から収益を得る構造からの脱却

開発に特化するための環境整備

## 後発医薬品

### 課題

- 医薬品の安定供給が損なわれている

- **産業構造／ビジネスモデル**
  - \* 参入障壁の低下（共同開発の導入等）
  - \* 特許切れ直後の品目に偏った収益構造からの脱却
- **サプライチェーンの強靱化**

医療上必要性の高い医薬品の安定供給を確保するための環境整備

## 医薬品流通構造

- 公定薬価を上限とし、頻度高く競争を繰り返す市場構造が形成された結果、薬価が趨勢的に下落するという特異な市場構造。
- 生命関連産業である医薬品産業が構造的デフレ産業に陥るおそれ。特に、社会的インフラである医薬流通産業の経営に厳しい影響。

# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書のポイント(1)

- 検討会では、革新的医薬品の日本への早期上市や医薬品の安定的な供給を図る観点から、現状の課題を踏まえ、流通、薬価制度、産業構造など幅広い議論を実施してきた。議論のとりまとめとして、以下の対策を提言する。

## 安定供給の確保

### 【主な課題】

後発品を中心として、多くの品目が出荷停止等の状況。背景には、小規模で生産能力も限定的な企業が多い中、**少量多品目生産**が行われるといった後発品産業の構造的課題が存在している。

### 【対策の方向性】

#### 少量多品目生産といった後発品産業の構造的課題の解消等

- 企業の安定供給等に係る企業情報を可視化。当該情報を踏まえた新規収載や改定時の薬価の在り方を検討
- 上市に当たって十分な製造能力等を求める仕組みの構築
- **業界再編も視野に、品目数の適正化や適正規模への生産能力強化を進め、少量多品目生産といった構造的課題を解消する観点から薬価の在り方を検討するとともに、品目数の適正化に併せた製造ラインの増設等への支援などを検討。**ロードマップを策定し、集中的な取組を実施
- 製造効率の向上と品質確保の両立が図れるよう、異業種におけるノウハウの活用について検討するとともに、迅速な薬事承認を可能とする体制の確保や変更手続のあり方を明確化することで、製造効率の向上に向けた企業マインドを醸成することについて検討
- 後発品以外も含めた医療上必要性の高い品目の安定供給の確保に向け、薬価の下支え制度の運用改善を検討し、中長期的には、採算性を維持するための仕組みを検討（その際、企業努力を促す観点や保険財政のバランスを確保する観点を考慮）
- 原薬等の共同調達等の取組を促す
- 後発品産業のあるべき姿の策定やその実現に向けた議論を行う会議体の新設

## 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書のポイント(2)

### ■ 創薬力の強化

#### 【主な課題】

日本起源品目の世界市場シェアが低下するなど、我が国の創薬力が低下。新たなモダリティへの移行に立ち遅れる等、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進が必要な状況にある。

#### 【対策の方向性】

##### 新規モダリティの創出支援

- 積極的な新規モダリティへの投資や、国際展開を見据えた事業展開を企業が行うよう政府一丸となった総合的な戦略を作成
- 新規モダリティに係る新薬候補探索（シーズ・ライブラリ構築）等の支援を検討
- バイオ医薬品の製造や人材育成支援を通じた、バイオシミラーの国内製造の促進

##### 創薬エコシステムの構築

- ベンチャー企業について、資金調達や知財戦略等、開発から上市、海外展開まで一環したサポートの実施
- 製薬企業やベンチャー企業、アカデミアとのマッチング促進に向けた取組の実施

##### 革新的創薬に向けた研究開発への経営資源の集中化

- 研究開発型企業においては、革新的創薬に向けた研究開発への経営資源の集中化を図るべきであり、**特許期間中の新薬の売上で研究開発費の回収を行うビジネスモデルへの転換を促進するため、薬価制度の見直し等を行うことが必要である。**
- 併せて、諸外国に比べて長期収載品の使用比率が高いこと等を踏まえ、**長期収載品による収益への依存から脱却を促すため、原則として後発品への置換えを引き続き進めていく**べきである。
- その際、**長期収載品の様々な使用実態に応じた評価を行う観点から、選定療養の活用や、現行の薬価上の措置の見直しを含め対応を検討**

# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書のポイント(3)

## ■ ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消

### 【主な課題】

欧米では承認されている143品目が日本で未承認。うち、国内開発未着手のものが86品目あり、ドラッグ・ロスが懸念される。開発未着手品目は、ベンチャー企業発、希少疾患用医薬品、小児用医薬品の割合が多い。

### 【対策の方向性】

#### 革新的医薬品の迅速導入に向けた環境の整備

- 国際共同治験への対応の強化。特に、国際共同治験に参加するための日本人データの要否等、薬事承認における日本人データの必要性を整理
- 希少疾病用医薬品指定制度について、早期段階から指定できるよう制度を見直し
- 小児用医薬品の開発計画策定の促進や、新たなインセンティブを検討
- 海外ベンチャー等に対し、日本の制度を伝達

#### 現に発生しているドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスへの対応強化

- AMED研究事業による支援により、先進医療・患者申出療養等による治療の早期実施が可能な体制の構築

#### 日本市場の魅力向上させる薬価制度

- 新規モダリティなどの革新的医薬品についての新たな評価方法を検討
- 医療上特に必要な革新的医薬品の迅速導入に向けた新たなインセンティブを検討
- ベンチャー発品目の新薬創出等加算における適切な評価の在り方を検討
- 医療上特に必要な革新的医薬品について、特許期間中の薬価維持の仕組みの強化を検討
- 市場拡大再算定について、再算定の対象となる類似品の考え方の見直しを検討
- 医療保険財政への影響を考慮しメリハリをつけた対応などを検討

※上記の薬価上の措置は創薬力に係る対策の方向性も兼ねている

# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書のポイント(4)

## 適切な医薬品流通に向けた取組

### 【主な課題】

- 薬価差は、①取引条件等の違い（例えば都市部と離島の配送コスト）から必然的に発生するものと②薬価差を得ることを目的とした値下げ交渉により発生するものがある。
- 現在は、医薬分業の進展とともに、取引主体が医療機関から薬局にシフトしている。
- こうした中で、チェーン薬局・価格交渉を代行する業者の大規模化により価格交渉力を強め、経営原資を得ることを目的に、医薬品の価値に関わりなく前回改定時と同じベースでの総値引き交渉が行われていることなど、薬価差を得る目的での取引が増加。一部で過度な薬価差の偏在が課題となっている。
- 特に長期収載品や後発品は、品目数が多いことから、価格交渉の実務的な負担を減らす観点から、総値取引が行われることが多く、値引きの際の調整に使用されるため、薬価の下落幅が大きくなっている。

### 【対策の方向性】

- まずは、流通関係者全員が医薬品特有の取引慣行や過度な薬価差等の是正を図り、適切な流通取引が行われる環境を整備するため、医療上の必要性の高い医薬品について、従来の取引とは別枠とするなど、総値取引改善に向け、流通改善ガイドラインを改訂

### 【引き続き検討すべき課題】

- 購入主体別やカテゴリー別の取引価格の状況や過度な値引き要求等の詳細を調査した上で、海外でクローバックや公定マージンが導入されていることも踏まえ、流通の改善など、過度な薬価差の偏在の是正策を検討
- 薬剤流通安定のためのものとされている調整幅について、流通コストの状況等を踏まえ、どのような対応を取り得るか検討

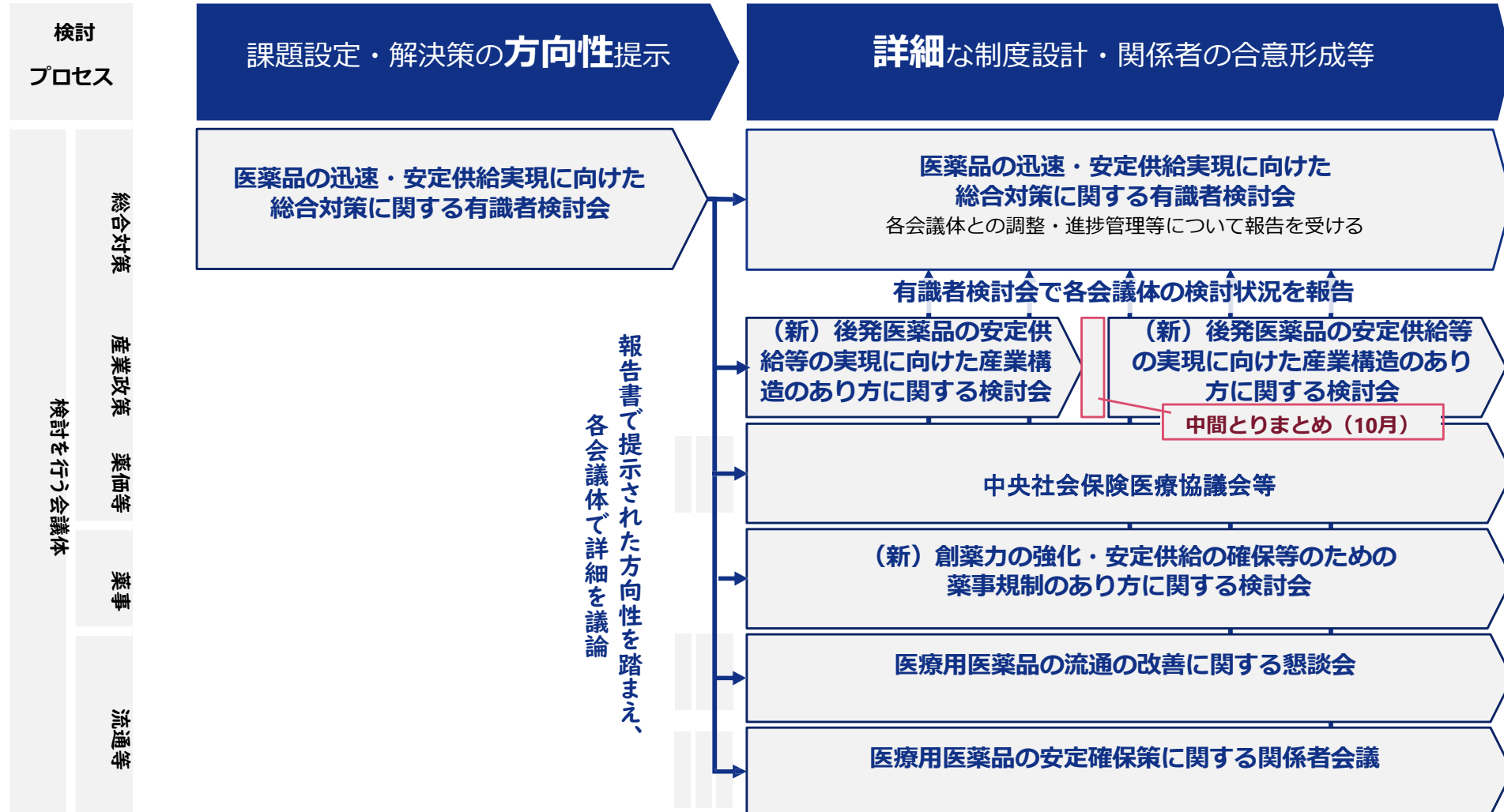


# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書 その他（主な項目）

- 後発品の使用促進に係る経済的インセンティブとしての患者負担の在り方（選定療養など）
- 薬剤一般について国民の軽度の負担
- 毎年改定のあり方の検討
- 中長期的な経済成長率にあわせた薬剤費の伸び
- 産業育成を公的保険の枠外で考えること：例えば、セルフメディケーションの推進
- 薬剤費等のデータを収集

# 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 報告書を踏まえた今後の検討体制

- 有識者検討会の報告を踏まえ、中医協等の会議体において、詳細な制度設計や関係者の合意形成に係る議論を行う。
- 併せて、有識者検討会を定期的を開催し、各会議体の検討状況の報告等を行うことを想定している。



※ 「(新)」の記載がある検討会は、報告書とりまとめ以降に新たに立ち上げたもの



# 2024年度薬価制度改革、2025年度薬価改定



# 2025年度薬価改定のポイント

- 改定対象範囲は医薬品のカテゴリごとに設定する。
  - 新薬創出加算品と後発医薬品は平均乖離率（5.2%）の1.0倍超（「その他医薬品」も含む）
  - 新薬創出加算対象外の新薬は0.75倍（乖離率3.9%）超
  - 長期収載品は0.5倍（2.6%）超
- 創薬イノベーションの推進の観点から、追加承認品目等に対する加算を臨時的に実施
- 臨時的に不採算品再算定を実施、最低薬価は引き上げ。
- 新薬創出加算の累積額控除を実施。

経済財政運営と改革の基本方針2024（令和6年6月21日閣議決定）において、2025年度薬価改定の在り方について検討するとされたことに基づき、平均乖離率が縮小するなど、「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」（平成28年12月20日内閣官房長官、経済財政政策担当大臣、財務大臣、厚生労働大臣決定）当時からの状況が大きく変化していることや、現役世代等の保険料負担が上昇していることを踏まえ、令和3年度、令和5年度の薬価改定の慣例に固執することなく、必要な対応を行う。

# 2024年度薬価制度改革のポイント（後発医薬品安定確保）

後発医薬品を中心とした安定確保の課題解消、後発医薬品産業構造転換、医療上必要性の高い品目の安定確保

1. 後発企業の安定供給体制を評価する「企業指標」と薬価に反映する仕組みの導入
2. 収載時薬価を先発品の0.4掛けとする規定の厳格化
3. 基礎的医薬品の適用要件の緩和
4. 不採算品再算定の特例的適用

**継続して議論すべき点・・・ 供給不足の真の原因と解決のための対応  
（私見、以下同じ） 毎年改定、市場実勢価形成と流通問題**



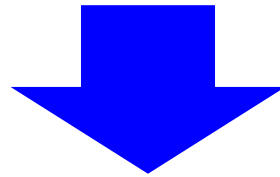
# 2024年度薬価制度改革のポイント（新薬の薬価算定）

創薬力強化とドラッグ・ロス/ラグの解消のためのイノベーション評価

1. 革新的新薬の日本への迅速な導入を評価する「迅速導入加算」の新設
2. 新薬創出加算の見直し
3. 有用性系加算の評価項目の拡充
4. 小児用医薬品評価の充実
5. 市場拡大再算定の見直し（いわゆる「友連れ」ルールの廃止）

**継続して議論すべき点・・・ イノベーション評価のあり方  
財政影響（薬剤費総額）の議論**

- ✓ドラッグロス・ラグ
- ✓新薬開発力低下
- ✓医薬品不足・供給問題



**すべて薬価制度が悪い！！！！**



## ヘルスケアエコシステムと製薬産業



# Pharmaceutical Strategy for Europe(2020.11)



## Medicines - a strong ecosystem at an important crossroads

Good health is central to wellbeing and depends on a multitude of factors including healthy lifestyles and fair and equitable access to healthcare, a central pillar of the European way of life. Healthcare in turn requires safe, effective and affordable medicines.

健康はウェルビーイングの中心であり、健康的なライフスタイルや、欧州の生活様式の中心である医療への公平で公正なアクセスを含む、多くの要因に依存。ヘルスケアには、安全で効果的かつ手頃な価格の医薬品が必要。

### 4 work strands:

1. ensuring access to affordable medicines for patients, and addressing unmet medical needs (in the areas of antimicrobial resistance and rare diseases, for example)  
購入可能な価格での医薬品へのアクセスを確保し、アンメットメディカルニーズ（例えば抗菌薬耐性や希少疾病の分野）に対応。
2. supporting competitiveness, innovation and sustainability of the EU's pharmaceutical industry and the development of high quality, safe, effective and greener medicines  
EUの製薬産業の競争力、革新性、持続可能性を支援し、高品質で安全、有効かつ環境に優しい医薬品の開発を支援。
3. enhancing crisis preparedness and response mechanisms, diversified and secure supply chains, addressing medicines shortages  
危機への備えと対応メカニズムの強化、多様で安全なサプライチェーンの構築、医薬品不足への対応。
4. Ensuring a strong EU voice in the world, by promoting a high level of quality, efficacy and safety standards  
高水準の品質、有効性、安全性の基準の推進による、世界におけるEUの強い発言力の確保。

# 欧州議会、薬事規制法改正を大差で採択(2024.4)



News  
European Parliament

Search

Homepage Press room Agenda FAQ Election Press Kit

Press room / Parliament adopts its position on EU pharmaceutical reform

## Parliament adopts its position on EU pharmaceutical reform

Press Releases [PLENARY SESSION](#) [ENVI](#) Yesterday



- Ensuring safe, efficient and quality medicinal products
- Fostering innovation and development of medicines to address unmet medical needs
- Boosting research in novel antimicrobials to fight antimicrobial resistance (AMR)



MEPs support comprehensive reform of EU pharmaceutical legislation © Viewfinder / Adobe Stock

### Further information

- > [Adopted texts will be available here \(10.04.2024\)](#)
- > [Recording of the plenary debate \(10.04.2024\)](#)
- > [Procedure file \(directive\)](#)
- > [Procedure file \(regulation\)](#)
- > [Legislative train - Revision of the EU pharmaceutical legislation](#)
- [PDF](#) [EP Research: Revision of the EU pharmaceutical legislation \(April 2024\)](#)
- > [Free photos, videos and audio material](#)

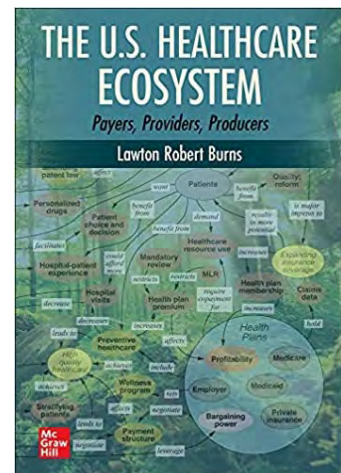
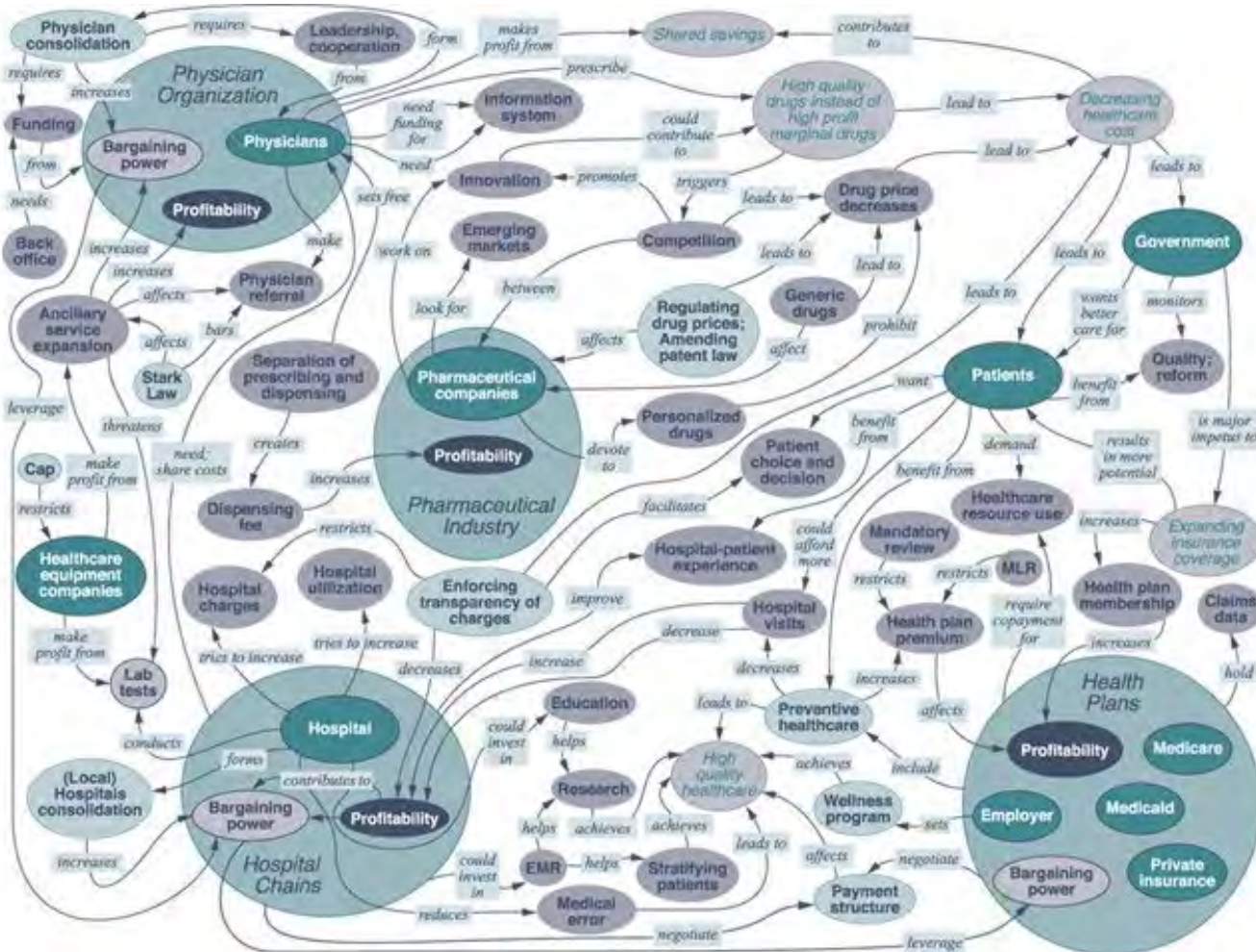
- ✓ 2024年4月10日、イノベーションを促進し、医薬品の安定供給、入手しやすさ、買い求めやすさを向上させるため、EUの医薬品関連法を改正する提案を採択。
- ✓ ヒト用の医薬品を対象とするこの立法パッケージは、新しい指令（賛成495票、反対57票、棄権45票で採択）と規則（賛成488票、反対67票、棄権34票で採択）で構成。
- ✓ 製造販売承認後2年間の市場保護期間（後発、ハイブリッド、バイオシミラー製品を販売できない期間）に加え、7年半の最低規制データ保護期間（他社が製品データにアクセスできない期間）を導入。



# The U.S. Healthcare Ecosystem: Payers, Providers, Producers

Robert Lawton Burns, Professor of Health Care Management and Co-Director, Vagelos Program in Life Sciences & Management, The Wharton School, University of Pennsylvania

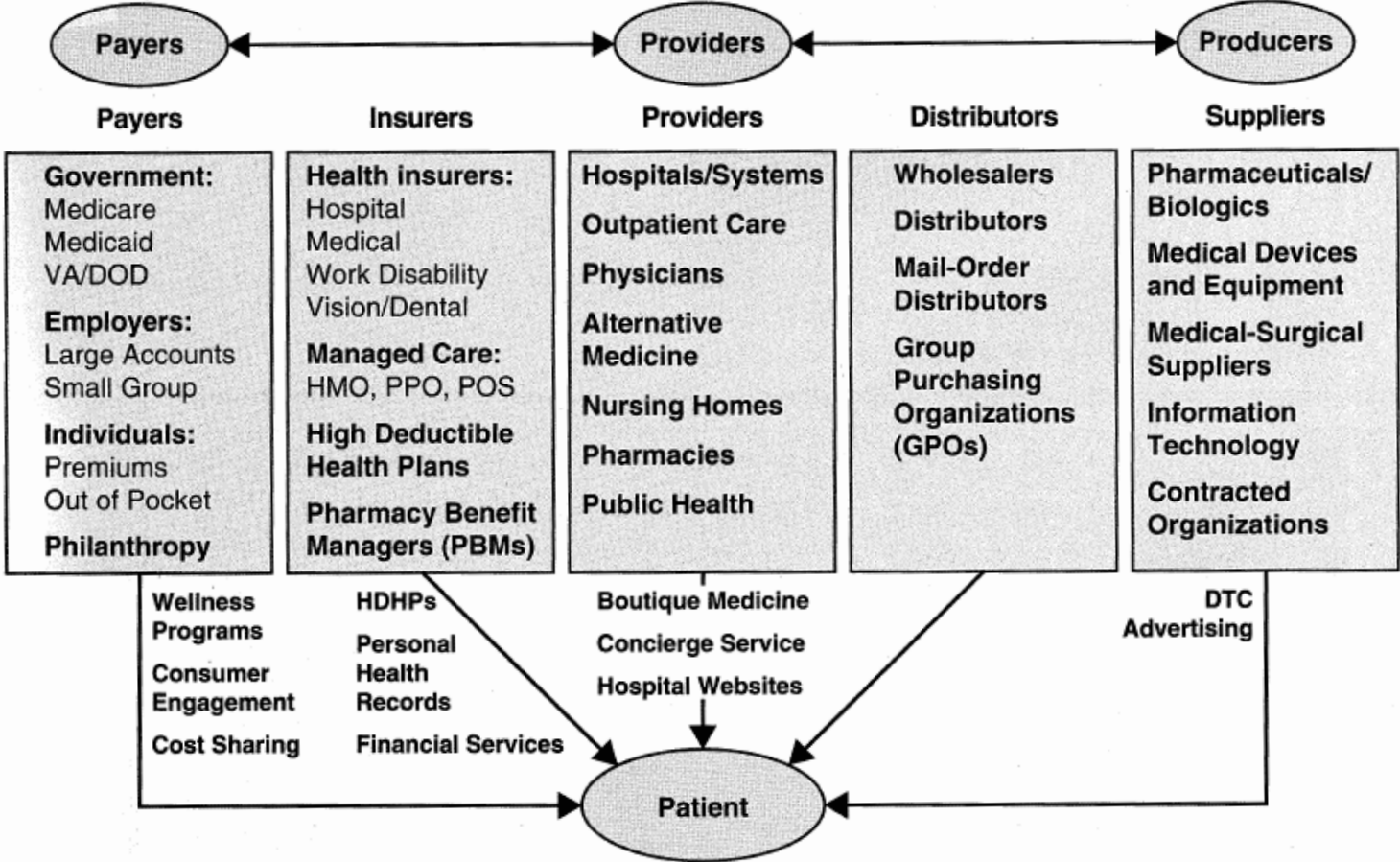
- **ヘルスケア・エコシステム**：医療の質、多様な選択肢、イノベーション、アクセス、医療費コントロールを支える基盤
- 医療提供者、組織、支払者、企業の役割と関係性
- 多面的価値観と多角的な対策の必要性



## The U.S. Healthcare Ecosystem: Payers, Providers, Producers

Robert Lawton Burns, Professor of Health Care Management and Co-Director, Vagelos Program in Life Sciences & Management, The Wharton School, University of Pennsylvania

# Healthcare Value Chain

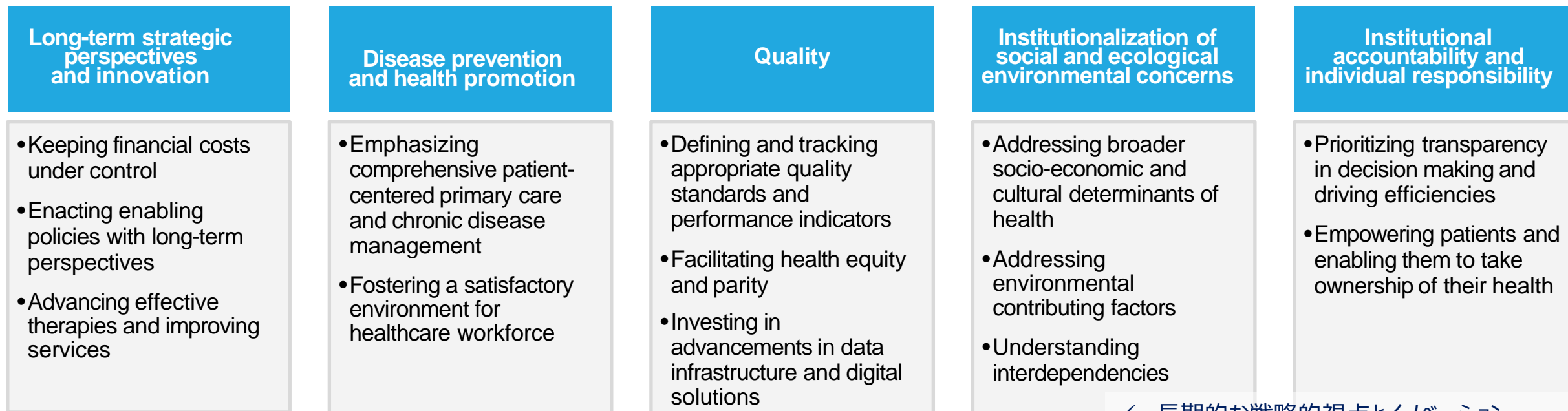


**Figure 3-13 •** Where Is the Patient in the Healthcare Value Chain? CAM, Complementary and Alternative Medicine; DOD, Department of Defense; DTC, Direct-to-Consumer; HDHPs, High-Deductible Health Plans; HMO, Health Maintenance Organization; POS, Point of Service; PPO, Preferred Provider Organization; VA, Veterans Administration. (Source: Lawton R. Burns, PhD, The Wharton School.)

§ “...not everyone means the same thing when they speak about ‘sustainable health care’.” [Muzyka et al. 2014]

§ There are various schools of thought but there are also common themes across stakeholders

- ✓ 「持続可能な医療」について語るとき、誰もが同じことを意味しているわけではない
- ✓ ステークホルダーに共通するテーマもある



- ✓ 長期的な戦略的視点とイノベーション
- ✓ 疾病予防と健康増進
- ✓ 品質
- ✓ 環境関心への制度化
- ✓ 組織の説明責任と個人の責任



# Performance Dimensions

## ➤ 製薬産業とヘルスエコシステムの視点

- ✓ 健康価値の向上：持続的なイノベーションとイノベーションへのアクセス
- ✓ 社会保障制度の持続可能性
- ✓ イノベーション評価と受入れ可能・支払い可能な価格制度
- ✓ 安定確保のためのサプライチェーンと流通
- ✓ 環境への配慮

しかし、必ずしもすべてが同時に成り立つわけではない！



## ヘルスエコシステムにおける役割と産業の持続可能性


- 新薬
- バイオシミラー
- ジェネリック医薬品



# ISPOR SPECIAL INTEREST GROUPS (SIG) FOR BIOSIMILARS


## THE EVOLUTION OF BIOSIMILAR MARKETS: KEY ELEMENTS FOR LONG-TERM SUSTAINABILITY OF THE HEALTHCARE ECOSYSTEM

CONFERENCE/VALUE IN HEALTH INFO  
2022-05, ISPOR 2022, Washington, DC, USA




**THE EVOLUTION OF BIOSIMILAR MARKETS:**  
Key elements for long-term sustainability of the healthcare ecosystem

ISPOR 2022 Global HEOR Conference  
Forum brought to you by the ISPOR Special Interest Group on Biosimilars  
17<sup>th</sup> May 2022



**AGENDA**

- § U.S. Perspective (Lockhart)
- § IQVIA Sustainability Framework (Aitken)
- § Multistakeholder Objectives (Vanderpuye-Orgle)
- § Patient Advocate's Perspective (Hyde)



**AIM OF TODAY'S FORUM**

- § Share insights on the role biosimilar medicines play in supporting the long-term sustainability of the healthcare ecosystem
- § Reflect on learnings extracted from the use of biosimilars in the U.S.
- § Identify elements that may undermine the sustainability of off-patent biologic/biosimilar markets
- § Provide a multistakeholder perspective on elements necessary to ensure sustainable markets

### バイオシミラーによるヘルスケア・エコシステムの持続可能性

- ✓ バイオシミラーによる市場競争・価格競争 ⇔ バイオシミラー市場の持続可能性 健全な競争と供給のレベル
- ✓ 医療への支出コントロールと質の高い医療 ⇒ ヘルスケアシステムの持続可能性
- ✓ 患者のアクセス拡大

Through lower-priced therapies and more treatment options, biosimilars may result in:



- Drivers include**
- § Safety
  - § Efficacy
  - § Effectiveness
  - § Reimbursement
  - § Stakeholder perceptions
    - Competition
    - Prices
    - Market share

**Competition**

**Expanded access**

**Cost savings**

**Headroom for innovation**

**Health system sustainability**



# ヘルスケアエコシステムにおける薬価制度



# 医薬品価格政策（価格設定と償還）の機能（OECD,2009+）

## 医療費（薬剤費）コントロール

- ✓ 財政影響
- ✓ 支出額に見合う健康価値  
(Value for money)

## 新医療技術へのアクセス

- ✓ 公衆衛生、福利への影響  
(welfare, public health)
- ✓ 希少疾患や小児への配慮

## イノベーション評価

- ✓ イノベーションに対する多面的評価  
(Multiple Criteria Decision Analysis)
- ✓ 透明性の高い価格政策

## 流通と安定確保

# HEALTHCARE PAYMENT ECOSYSTEM



## Managing the Challenges of Paying for Gene Therapy: Strategies for Market Action and Policy Reform

April 23, 2024

**Sharon Phares, PhD, MPH**

Associate Director for Research  
NEWDIGS, Tufts Center for Biomedical System Design

**Mark Trusheim, MS**

Strategic Director  
NEWDIGS, Tufts Center for Biomedical System Design

**Sarah K. Emond, MPP**

President and Chief Executive Officer  
Institute for Clinical and Economic Review

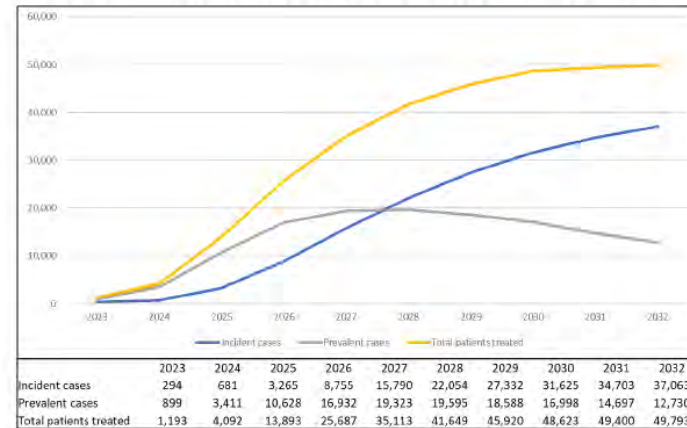
**Steven D. Pearson, MD, MSc**

Special Advisor  
Institute for Clinical and Economic Review

### Background

Gene therapies modify the DNA or RNA of cells. Nearly all gene therapies are intended to provide a durable effect lasting from a single administration.<sup>12</sup> As noted earlier, there are currently 17 single-administration gene therapies approved in the US market, but the number of new therapies is expected to increase rapidly over the coming decade. Figure 1 below estimates the number of patients that will be treated over that period, with the treatable patient population anticipated to exceed 48,000 per year by the year 2030.<sup>5</sup>

Figure 1: Estimated gene therapy treatable patient population by 2032



As the **healthcare payment ecosystem** prepares for this anticipated growth, three key interconnected challenges must be addressed: determining a fair price, managing clinical uncertainty, and managing short term budget impacts.

#### Determining a Fair Price

Gene therapies entering the market in the US have been priced at very high levels. It is true that these one-time prices, if they are associated with durable major health improvements, may, in many cases, represent a good long-term value and, in some cases, may even represent net savings

©Institute for Clinical and Economic Review, 2024, created in collaboration with NEWDIGS at Tufts Medical Center  
Page 5  
White Paper: Managing the Challenges of Paying for Gene Therapy

予想される成長に備えるために、  
医療費支払いエコシステム (Healthcare Payment Ecosystem) が、相互に関連する3つの重要な課題に取り組む必要がある。  
すなわち、  
適正価格の決定、  
臨床上の不確実性の管理、  
短期的な予算への影響の管理である。

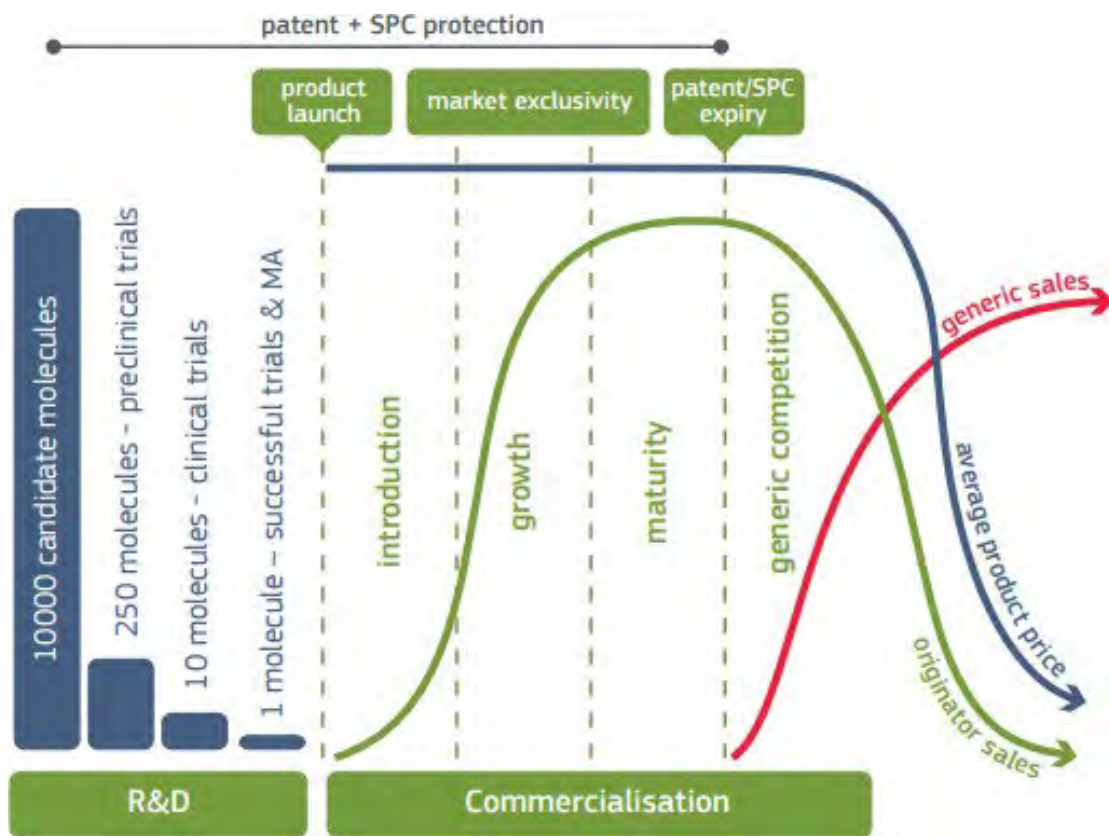


## イノベーション評価のあり方



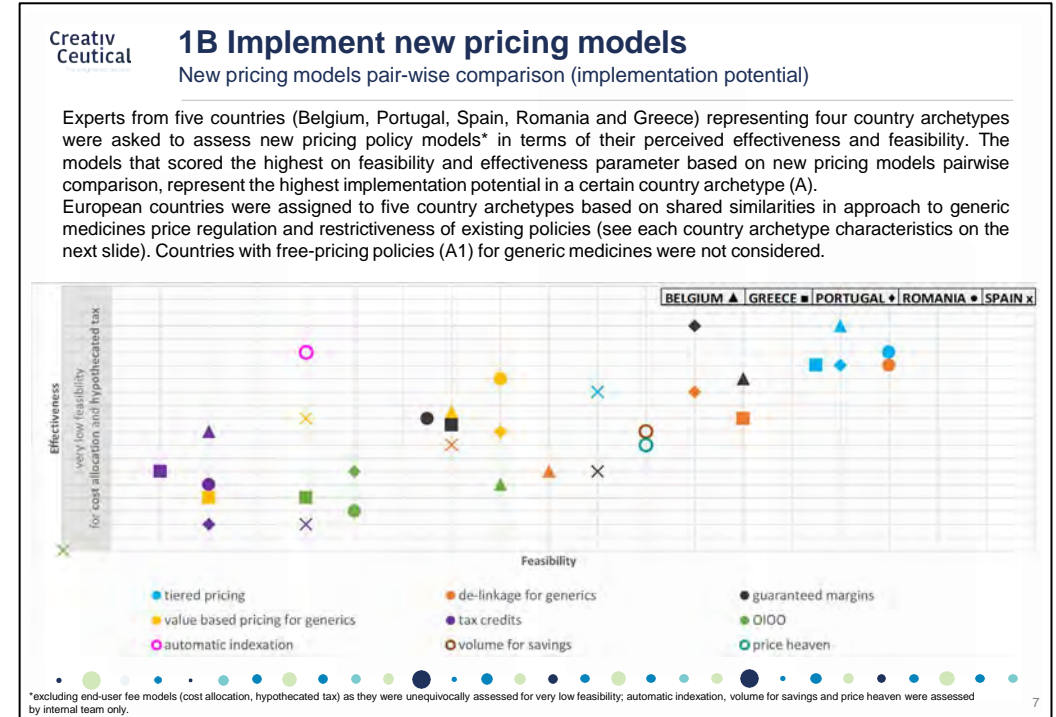
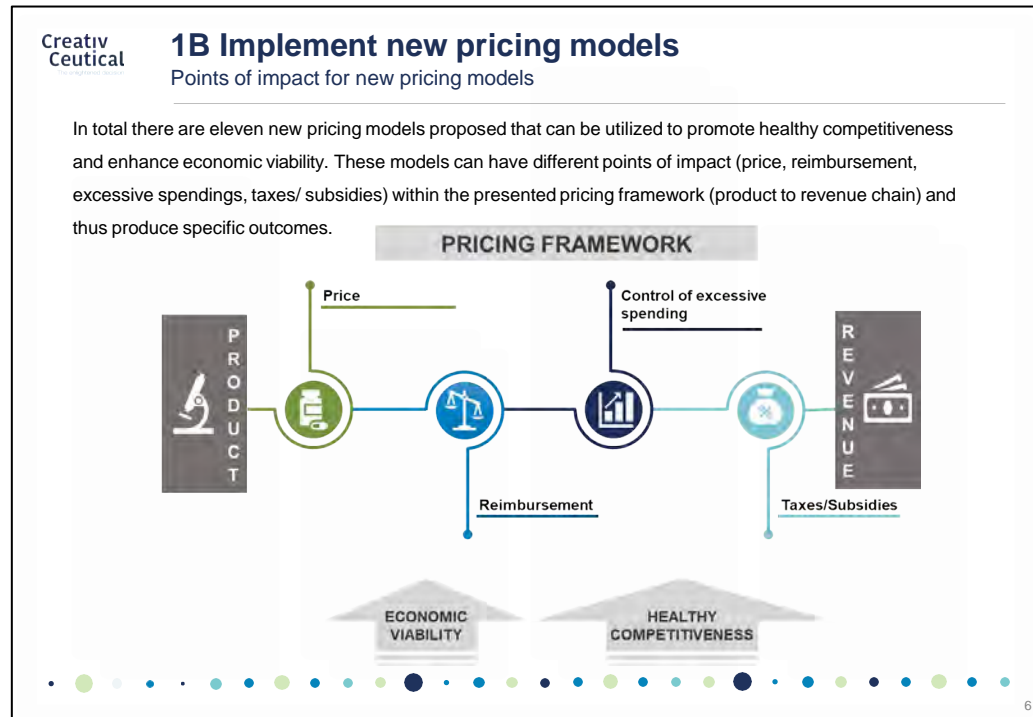


# 持続可能なイノベーションのためには、適切なイノベーション評価の仕組みが必要



1. Incentives to invest
2. Success in price control
3. Fair shot biosimilars/generics

# NEW PRICING MODELS FOR GENERIC MEDICINES TO ENSURE LONG-TERM HEALTHY COMPETITIVENESS IN EUROPE (24.06.2022)



- ✓ 欧州の多くの国では、医薬品支出を削減し、革新的医薬品と後発医薬品の両方へのアクセスを拡大するために、主に外部参照価格や内部参照価格などの政策ツールを用いて後発医薬品の価格を規制。
- ✓ 強制的価格引き下げ、クローバック、行政予算管理措置:企業収益低下、市場撤退、供給不足、長期的な価格上昇
- ✓ **段階的価格設定**: コスト等に応じた企業による価格変動
- ✓ **オリジネーター価格との非連動性**: オリジネーターとの内部参照価格の非連動
- ✓ **自動価格調整モデル (自動インデックス)**: コスト上昇に対して所定の指標値 (インデックス) を設定して自動調整
- ✓ その他: バリューベース価格、税額控除、ボリューム・フォー・セービング、価格天国、マージンフィー保証などについて検討。



# 世界的にもイノベーション、アクセス、アフォーダブルな価格設定の議論が



**AIM PROPOSES TO ESTABLISH A EUROPEAN DRUG PRICING MODEL FOR FAIR AND TRANSPARENT PRICES FOR ACCESSIBLE PHARMACEUTICAL INNOVATIONS**

**Introduction**  
The International Association of Mutual Benefit Societies (AIM) proposes a concrete alternative for setting the price of new medicines. In order to make innovative essential medicines accessible, AIM calls for a 'fair European maximum price calculation model'.

**Key messages**

- Medicines should be considered as a **public good**
- Prices should be more in line with the costs of **research and development**
- Access to **affordable** medicines should be promoted globally
- Prices of medicines need to be **predictable**
- A European model for the calculation of fair prices for medicines should **reward what really matters**
- Prices must take the **added therapeutic value** into account
- A fair price model should be subject to some **flexibility**
- Corrective measures against parallel trade and shortages of medicines must be introduced.

**1 Medicines should be considered as a public good**  
Essential medicines should be considered as a public good accessible to all. However, they are developed, produced and marketed by pharmaceutical companies whose objective is to maximize profit. In recent years the price of medicines has rapidly increased. One example is the price of cancer treatments. It has increased tenfold between 1995 and 2010<sup>1</sup> with still an acceleration in recent years<sup>2</sup>. It has had clear impact on patient access, on the expenses of health insurers and put pressure on the healthcare budgets.

**2 Prices should be more in line with the costs of research and development**  
According to the pharmaceutical industry, prices cover the growing costs of research and development. However, an analysis of these companies' accounts shows that research and development spending levels are lower than both marketing/medical information and profit levels. In 2014, the 10 largest companies invested \$66 billion in R&D while spending \$90 billion on marketing and generating another \$90 billion in profits<sup>3</sup>. And this data does not take into account

1. Memorial Sloan Kettering Cancer Center, Center for Health Policy & Outcomes, Deise B. Back Price & Value of Cancer Drug, available at <http://www.mskcc.org/research/programs/health-policy/outcomes/food-drugs> (accessed 10 June 2019).  
2. The median annual cost of a new cancer drug launched in 2017 exceeded \$150,000, compared to \$79,000 for the new cancer drugs launched in 2012. (2016) Available for Pharma Data Science, Global Drugwatch Panel, 2018 Innovation, Expansion and Disruption, May 2018, p. 22.  
3. DiMasi J.A., Grabowski H.G., Hansen R.W., Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs. Journal of Health Economics 47 (2016) 29–53, 2016.

**POLICY BRIEF 29**  
**Ensuring access to medicines: How to stimulate innovation to meet patients' needs?**

Dimitra Panteli  
Suzanne Edwards

European Commission

2018

**JOURNAL OF MARKET ACCESS & HEALTH POLICY**  
2019, VOL. 7, 158-136  
<https://doi.org/10.1080/20989168.2019.1635536>

**ARTICLE**  
**The price of innovation - the role of drug pricing in financing pharmaceutical innovation. A conceptual framework**

Santiago G. Moreno<sup>a</sup> and David Epstein<sup>b\*</sup>

<sup>a</sup>Department of Market Access & Public Affairs, Novartis Pharma AG, Basel, Switzerland; <sup>b</sup>Department of Applied Economics, University of Granada, Campus de Cartuja, Granada, Spain

**ABSTRACT**  
The debate on drug prices has reached new heights with the controversy around the role of prices in promoting innovation. Critics claim that prices of innovative drugs are excessive and argue that lowering prices will not harm the flourishing innovation. On the opposite end, the pharmaceutical industry insists that restrictive pricing policies will have a detrimental impact on their ability to generate innovation. Amid these two divergent positions, this manuscript presents a conceptual framework to better understand the role played by drug prices to influence the ability of pharmaceutical firms to raise money in capital markets and hence finance pharmaceutical innovation. We argue that deviations from established value-based pricing principles, by either firms or payers, will distort access by firms to capital and lead to an undesirable level of innovation in the long term. We hope that this framework helps policy-makers anticipate the impact of their proposals, and ultimately guide policies towards setting optimal drug prices as a means to maximize social welfare.

**KEYWORDS**  
innovation; pharmaceutical industry; health technology assessment (HTA); finance; value-based pricing

**ARTICLE HISTORY**  
Received 25 October 2018  
Revised 7 February 2019  
Accepted 8 February 2019

**OPEN ACCESS**

**Introduction**  
Policy-makers start from the premise that innovation is socially desirable, and as such deserves to be incentivised and rewarded. Multiple types of incentives already exist for basic and applied research because both have important implications for the rate of innovation [1]. For applied pharmaceutical research, multiple forms of incentives exist (incl. patent and data protection, market exclusivity, tax credits and drug prices), which can be viewed as a reward for bringing new medicines to patients. This manuscript will focus on shed light on the role it plays pharmaceutical innovation.

level of incentives/rewards needs to justify the sustainability of the healthcare system that has come to be known as value-based pricing (VBP) lies on the principle that prices should reflect the added drug's benefit to healthcare systems and, in some cases, and on the other hand reward successful create incentives for further R&D to a win-win outcome because it gives a mechanism to signal their profit, and incentivises the pharmaceutical level in purposeful R&D that aims to bring innovations that meet this demand.

It necessarily requires both sides to take a long view. This more collaborative approach is particularly critical for a topic rarely discussed in the literature: specifically, the need of pharmaceutical firms to secure the finance to fund R&D activities, generally lasting several years before a product reaches the market and becomes profitable.

However, these practices. The pharmaceutical industry has been criticised for taking a charging prices in the absence of the are also criticised for excessive purchase discounts from the in pricing negotiation between patients and pharmaceutical companies. The aim of this paper is to discuss the pharmaceutical industry deviations from the either by industry capital markets an patients, healthcare large. We propose the mechanism that

\*Corresponding author. Email: [epstein@economics.ugr.es](mailto:epstein@economics.ugr.es)

**Health Policy Analysis**  
**External Reference Pricing for Pharmaceuticals—A Survey and Literature Review to Describe Best Practices for Countries With Expanding Healthcare Coverage**

Anne-Peggy Holtorf, PhD, MBA<sup>1,\*</sup>, Fotini Giannaki, PhD<sup>2</sup>, Kalman Emry Wijaya<sup>3</sup>, Zoltan Kaló, MSc, MD, PhD<sup>4,5</sup>

<sup>1</sup>Health Outcomes Strategy GmbH, Basel, Switzerland; <sup>2</sup>Department of Health Services Management, National School of Public Health, Athens, Greece; <sup>3</sup>Novartis Products Operations AG, Albstadt, Switzerland; <sup>4</sup>VITA Center at Semmelweis University, Budapest, Hungary; <sup>5</sup>Sztem Research Institute, Budapest, Hungary

**ABSTRACT**  
**Background:** Countries with expanding healthcare coverage (CHCs) use external reference pricing (ERP) for pharmaceuticals to minimize health care costs. However, there is no consensus on the criteria for selecting countries for ERP. **Objective:** This study aims to describe best practices for countries with expanding healthcare coverage. **Methods:** We conducted a literature review to identify best practices for countries with expanding healthcare coverage. **Results:** We identified several best practices for countries with expanding healthcare coverage. **Conclusion:** Countries with expanding healthcare coverage should consider a set of requirements when introducing ERP, including clear definitions and decision criteria in full transparency. External reference pricing should be used as a benchmark for pricing decisions, rather than being used as the sole pricing mechanism. External reference pricing is primarily a tool to support decisions regarding on-generics pharmaceuticals, and for off-patent products, competition may prove more effective in reducing prices than ERP. **Keywords:** developing countries, emerging markets, external reference pricing (ERP), good practice, international reference pricing (IRP), pharmaceutical pricing policy.

© 2019 EBOR. The professional society for health economics and outcomes research. Published by Elsevier Inc. This is an open access article under the CC BY-NC-ND license (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).

price regulation tool used to contain cost and to ensure that the price paid for a pharmaceutical product in a country or payer or organization does not exceed unreasonably the price paid in the comparator country or organizations.<sup>1,2</sup> It may be used formally or informally to set on-fact retail prices, at launch or during the product life cycle on a regular basis, or as the primary or as one of several criteria for informing the price setting or revision.<sup>3,4</sup> Compared with other more rigorous approaches to setting prices, ERP seems relatively intuitive and easy. Moreover, it provides reassurance for the public that prices do not exceed those in other countries. Therefore, ERP is commonly applied for newly

**INNOVATIVE PAYMENT MODELS FOR HIGH-COST INNOVATIVE MEDICINES**

Report of the  
**Expert Panel on effective ways of investing in Health (EXPH)**

Health

**Let's Talk Access!**  
**Tackling challenges in access to innovative cancer medicines**

Societal Perspective

Anna Prolukhova,  
Association of European Cancer Leagues (ECL)

4 December 2019

**Access and prices across the EU**  
**Affordability and sustainability of innovative medicines**

Carin Uyl-de Groot

European Parliament, December 4, 2019

Erasmus University Rotterdam

## AIM PROPOSES TO ESTABLISH A European Drug Pricing Model for **Fair and Transparent Prices** for Accessible Pharmaceutical Innovations

1. 医薬品は**公共財**として考えるべき
2. 価格は、**研究開発**のコストにもっと見合ったものにするべき
3. **安価な**医薬品へのアクセスをグローバルに推進すべき
4. 医薬品の価格は**予測可能**である必要がある
5. 医薬品の適正価格算出のための欧州のモデルは、**何に報いるべきか**？
6. **治療効果の付加価値**を考慮した価格であること
7. フェアプライスモデルは、ある程度の**柔軟**性を持たせる必要がある
8. **並行輸入**や**医薬品の不足**に対する**是正措置**を導入する必要がある

AIM; International Association of Mutual Benefit Societies

## INNOVATIVE PAYMENT MODELS FOR HIGH-COST INNOVATIVE MEDICINES Report of the Expert Panel on effective ways of investing in Health (EXPH)

- 価格とコストの透明性を高め、高い価格（支払者にとっての高いコスト）は、その根底に高い研究開発費がある場合とない場合があることを認識する
- 医薬品の社会的価値を測定する方法論を開発し、例えば医療技術評価の文脈で、そのような方法を体系的に使用する
- より高い治療付加価値に対してより良い報酬を設定し、イノベーションの努力がより関連性の高い分野に向けられるようにする
- 支払いシステムは、製品（薬）ではなく、サービス（治療）の取得に対して支払うという方向に進化する必要がある
- 関係するすべてのステークホルダーが参加する対話の場を作る

European Commission

1. AIM Proposes to Establish a European Drug Pricing Model for Fair and Transparent Prices for Accessible Pharmaceutical Innovations. <https://www.aim-mutual.org/wp-content/uploads/2019/12/AIMfairpricingModel.pdf>
2. Innovative Payment Models for High-Cost Innovative Medicines. [https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-11/opinion\\_innovative\\_medicines\\_en\\_0.pdf](https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-11/opinion_innovative_medicines_en_0.pdf)

## 【改正案】 (赤字が追加項目)

① 臨床上有用な新規の作用機序 (該当する項目ポイントの合計により算出. a、 b はいずれか1つ)		ポイント
a.	薬理作用発現のための <b>薬剤の作用点 (部位)</b> が既収載品目と大きく異なる	2p
b.	薬理作用発現のための <b>薬剤の標的分子 (酵素、受容体など)</b> が既収載品目と異なる	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、 <b>標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする</b>	+1p
d.	a又はbを満たす場合であって、 <b>創薬及び製造のプロセスが類似薬等と大きく異なることに基づいた臨床上的有用性が示される</b>	+1p
e.	a又はbを満たす場合であって、 <b>同じ疾患領域において、新規の作用機序の新薬が長期間収載されていない</b>	+1p
f.	a又はbを満たす場合であって、示された <b>新規の作用機序が臨床上市特に著しく有用</b> であると薬価算定組織が認める	+1p
② 類似薬に比した高い有効性又は安全性 (②-1と②-2のポイントの積により算出)		
②-1 高い有効性又は安全性の内容 (該当する項目ポイントの合計)		ポイント
a.	<b>臨床上市重要な有効性指標</b> において類似薬等に比した高い有効性が示される	1p
b.	重篤な副作用の発現状況など、 <b>臨床上市重要な安全性指標</b> において類似薬等に比した高い安全性が示される	1p
c.	a又はbを満たす場合であって、 <b>高い有効性又は安全性が臨床上市特に著しく有用</b> であると薬価算定組織が認める	+1p
②-2 高い有効性・安全性の示し方 (いずれか1つ)		
a.	<b>ランダム化比較臨床試験</b> による※	2p
b.	その他、患者数が少ない等の理由で <b>比較試験の実施が困難な難病・希少疾病等に対する新薬</b> であって、 <b>単群試験の成績等に基づいて類似薬等に比した高い有効性又は安全性が客観的かつ信頼性を持って示されていると薬価算定組織が認める</b> など、 <b>客観性及び信頼性が確保された方法</b> による	1p



## 有用性系加算等の定量化のための評価項目の改正 ②

【改正案】（赤字が追加項目）

## ③ 対象疾病の治療方法の改善（該当する項目ポイントの合計により算出）

	ポイント
a. 既存の治療方法では効果が不十分な患者群、あるいは安全性等の理由で既存の治療方法が使用できない患者群において効果が認められる	1p
b. 対象疾病に対する標準的治療法として位置づけられる	1p
c. 既存の治療方法に比べて効果の発現が著しく速い若しくは効果の持続が著しく長い、又は使用に際しての利便性が著しく高い（製剤工夫によるものを除く）	1p
d. 既存の治療方法との併用により臨床上有用な効果の増強が示される	1p
e. 作用機序に基づいて特定の患者集団に適応が限定され、当該集団に対して高い効果が示される	1p
f. 患者QOLの向上など、臨床試験での重要な副次的評価項目において既存の治療方法に比べた改善が示される	1p
g. 上記の他、特に著しい治療方法の改善が示されていると薬価算定組織が認める	1p
h. a～gのいずれかを満たす場合であって、標準的治療法が確立されていない重篤な疾病を適応対象とする	+1p



# 2024年4月薬価収載新薬

✓ 加算率が上がった一方で、原価計算では加算率ゼロも。

銘柄名	会社名	成分名	承認区分	算定薬価	算定方式	補正加算等
ゾキンヴィカプセル50mg ゾキンヴィカプセル75mg	アンジェス株式会社	ロナファルニブ	新有効成分 含有医薬品	91,796.40円 136,544.00円	原価計算	有用性加算 (I) A=45% 市場性加算 (I) A=15%加算係数 0 新薬創出等加算
ポイデヤ錠50mg	アレクシオンファーマ 合同会社	ダニコパン	新有効成分 含有医薬品	2,259.20円	原価計算	有用性加算 (I) A=40% 市場性加算 (I) A=10% 迅速導入加算A=10% 加算係数 0 新薬創出等加算
ターゼナカプセル0.1mg ターゼナカプセル.25mg ターゼナカプセル1mg	ファイザー株式会社	タラゾパリプトシル酸塩	新有効成分 含有医薬品	3,920.70円 9,576.00円 21,547.10円	類似薬効比較 (I)	—
ラパリムス顆粒0.2%	ノーベルファーマ 株式会社	シロリムス	新効能医薬品 新用量医薬品 剤形追加	3,010.20円	類似薬効比較 (I)	有用性加算 (II) A=15% 新薬創出等加算
フィコンパ点滴静注用2mg	エーザイ株式会社	ペランパネル水和物	新投与経路 医薬品	1,962円	類似薬効比較 (I)	小児加算A=5%新薬創出等加算
アイリーア8mg硝子体内注 液 114.3mg/mL	バイエル薬品 株式会社	アフリベルセプト (遺伝子組換え)	新剤形医薬品	181,763円	類似薬効比較 (I)	—
エヴキーザ点滴静注液345mg	Ultragenyx Japan 株式会社	エビナクマブ (遺伝子組換え)	新有効成分 含有医薬品	1,409,928円	類似薬効比較 (I)	有用性加算 (I) A=40% 小児加算A=10% 新薬創出等加算
レプロジル皮下注25mg レプロジル皮下注用 5mg	Bristol・マイヤーズ スクイブ株式会社	ルスパテルセプト (遺伝子組換え)	新有効成分 含有医薬品	184,552円 551,000円	原価計算	有用性加算 (I) A=45% 市場性加算 (I) A=10%加算係数 0 新薬創出等加算、費用対効果評価 (H1)
イブグリース皮下注250mg オートインジェクター イブグリース皮下注250mgシリンジ	日本イーライリリー 株式会社	レプリキズマブ (遺伝子組換え)	新有効成分 含有医薬品	61,520円 61,520円	類似薬効比較 (I)	小児加算A=5%新薬創出等加算
ヒフデュラ配合皮下注	アルジェニクスジャパン 株式会社	エフガルチギモド アルファ (遺伝子組 換え)・ボルヒアルロニダーゼ アル ファ (遺伝子組換え)	新有効成分含有医薬品 新医療用配合剤	604,569円	類似薬効比較 (I)	新薬創出等加算

# 1. (6) 新規モダリティのイノベーション評価

## 対応の方向性（案）

### ①原価計算方式における開示度向上【骨子による対応事項】

- 原価計算方式における開示度向上はかねてからの課題であり、開示度に応じた措置を講じているが、最近の新薬の開発が世界的な新興企業によって進められているものが多いこと、開発・製造が企業やグループ会社内で完結するものではなく、委託なども含め様々な企業が関わりながら進められている現状を踏まえると、ドラッグ・ラグ/ロスへの影響を回避しながら実効性を伴う見直しを行うことは難しいことを踏まえ、今回の薬価改定では特段の見直しは行わず、次期薬価改定に向けて検討を進めることとしてはどうか。
- 原価計算方式には透明性の確保に関する課題があることを踏まえ、類似薬効比較方式による算定を進めるための具体的な方策について、次期薬価改定に向けて検討を進めることとしてはどうか。

### ②新規モダリティのイノベーション評価【骨子による対応事項】

- 再生医療等製品も含め、新規モダリティなど類似薬がない革新的新薬における薬価上の適切なイノベーション評価のあり方等について、次期薬価改定に向けて検討を進めることとしてはどうか。

# 「イノベーション評価」の必要性は継続して議論されてきた

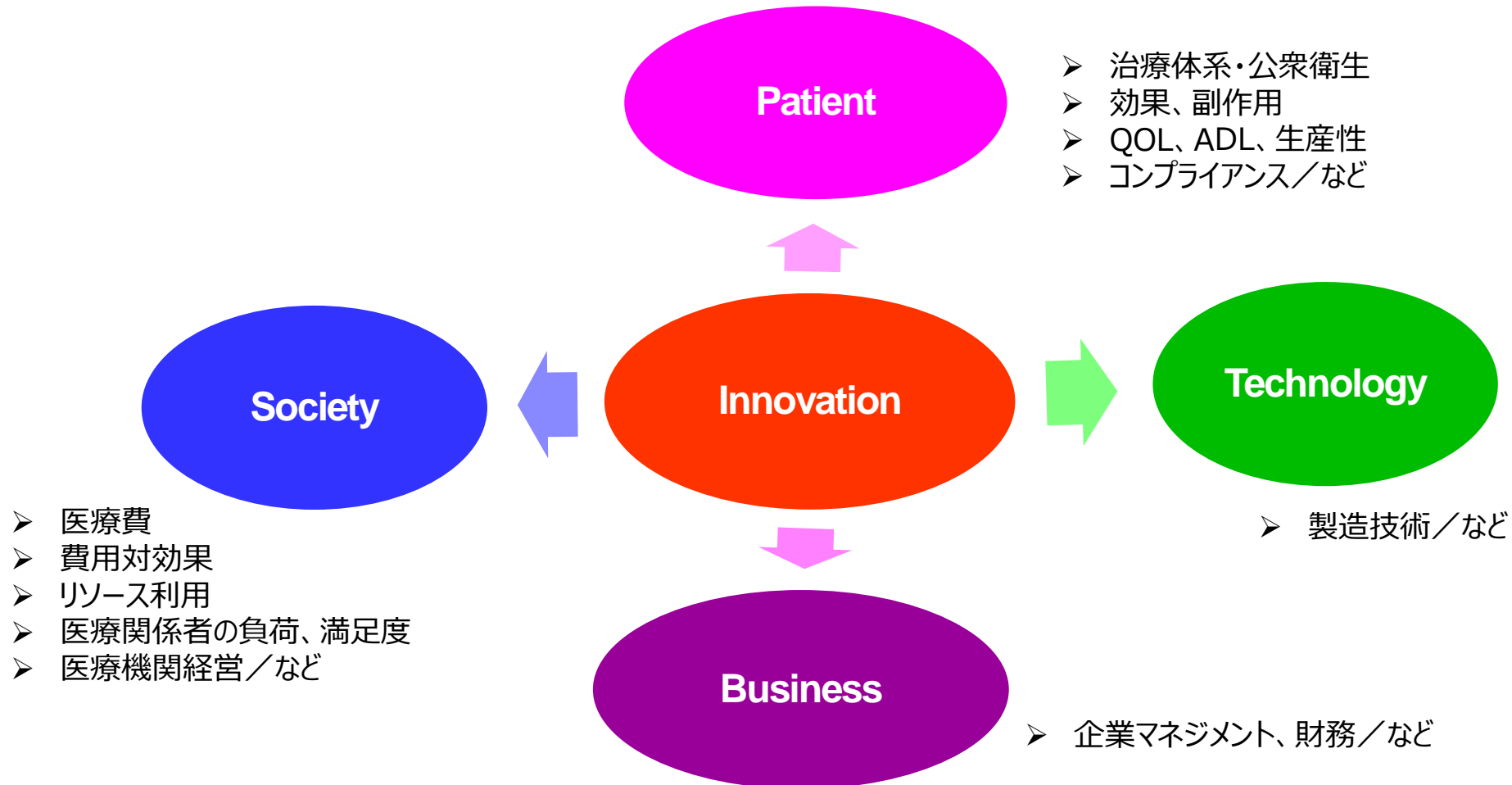
## 課題

- ✓ どのように評価するのか
- ✓ どのような医療技術をイノベーション評価するのか
- ✓ どこが評価するのか（保健医療科学院??）

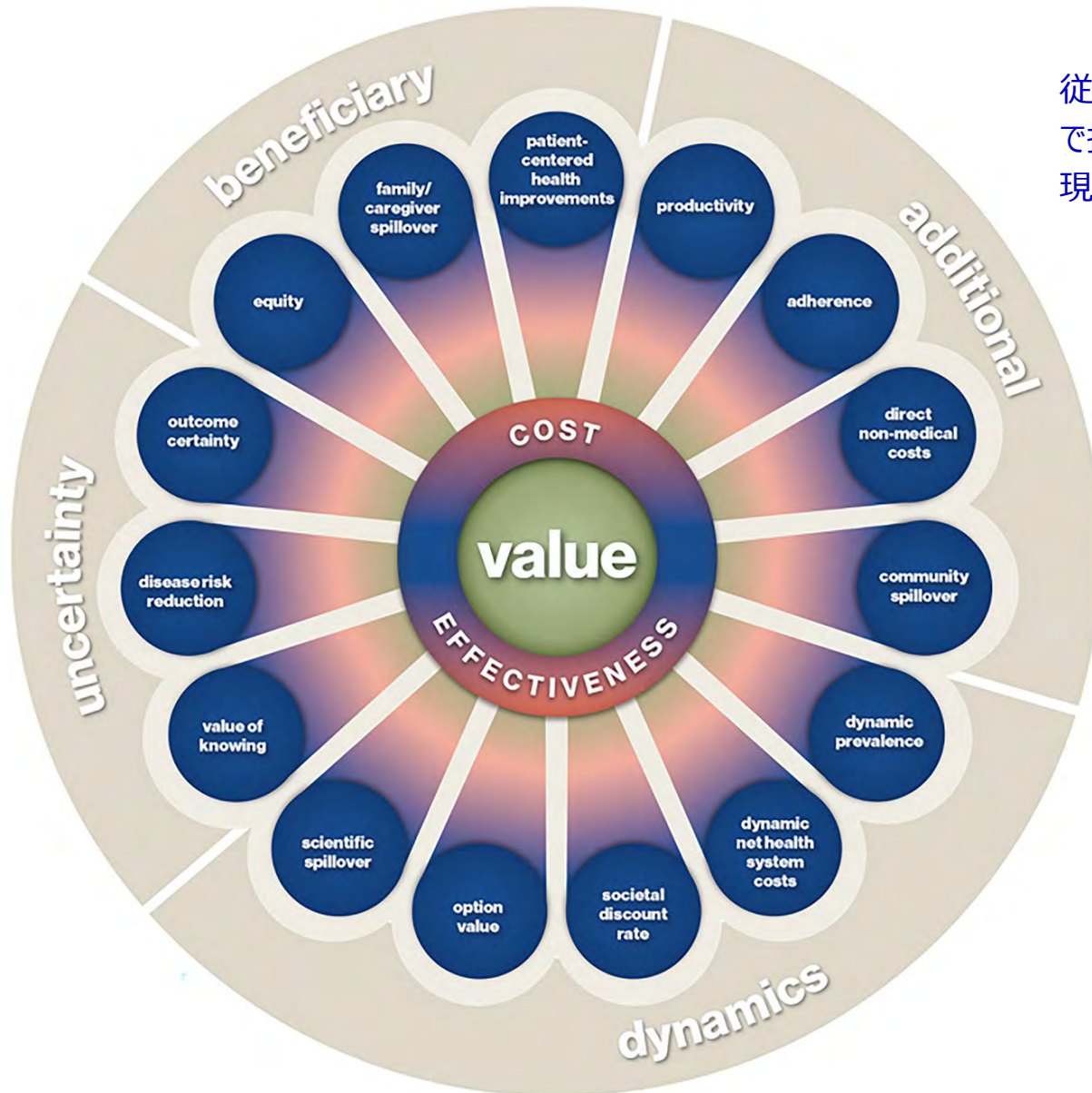
実装に関わる議論が不十分だったのでは？

# イノベーションの影響は多様

- 薬価制度で評価できるイノベーションは、患者や社会に対する価値
- それらの価値をどのように評価し、どのように薬価制度に反映すべきか



# VALUE FLOWER GENERALIZED COST EFFECTIVENESS ANALYSIS (GCEA)



従来のCEAの手法では除外されている、あるいは不完全にしか捉えられていない、GCEAで捉えられる価値の15の要素を特定し、以下のような重要な問題を定量化するための、現在の医療経済学的コンセンサス・アプローチを概説している：

- ✓ ジェネリック化による価格下落は、製品ライフサイクルにおける医薬品の社会的価値にどのような影響を与えるのか？
- ✓ 生産性や患者のリスク選好などの要素を考慮することで、患者にとっての治療法の利益をどのようによりよく測定するのか？
- ✓ この治療は患者の家族や介護者にどのような影響を与えるのか？
- ✓ 現在のイノベーションから知識が生まれ出され、将来の治療法の進歩に拍車がかかるとき、私たちは患者や社会に提供される価値をどのように考えるべきか？

➤ 現実には、方法論自体が未確立なドメインが多い。

Shafrin, Jason (Mann School of Pharmacy and Pharmaceutical Sciences, University of Southern California, Los Angeles, CA) , Kim, Jaehong, Cohen, Joshua T., Garrison, Louis P., Goldman, Dana A., Doshi, Jalpa A., Krieger, Joshua, Lakdawalla, Darius N., Neumann, Peter J., Phelps, Charles E., Whittington, Melanie D. and Willke, Richard. "Valuing the Societal Impact of Medicines and Other Health Technologies: A User Guide to Current Best Practices" Forum for Health Economics and Policy, 2024.  
<https://doi.org/10.1515/fhep-2024-0014>



# 事例：レカナマブ

英国NICEは、レカナマブのベネフィットは小さすぎると判断

2024年8月22日、英国の医療技術評価機関「国立医療技術評価機構：NICE」は、レカナマブのガイドランス案とともに、「新規アルツハイマー病治療薬レカナマブのベネフィットは、NHSのコストを正当化するには小さすぎる」とのニュースを公開した。ガイドランス案では、「軽度認知症の治療には、販売承認範囲内では推奨しない」としており、ガイドランス案に対するコメントは9月20日まで受け付けている。

なお、レカナマブの英国における価格は公開されていない。日本における費用対効果評価については、2023年12月13日に係対象品目として指定されている（現在、評価中）。

**(ニュースの日本語訳)**

アルツハイマーの新薬レカナマブのベネフィットは、コストを正当化するには小さすぎると、NICEは本日発表したガイドランス案で述べた。

レカナマブ (Lecanemab, 別名 Leqembi, エーザイ製) は、成人のアルツハイマー病 (Alzheimer's disease: AD) による軽度認知障害または軽度認知症の進行を遅らせるための薬剤であり、本日、医薬品医療機器総合機構 (Healthcare products Regulatory Agency: MHRA) により認可された。

本薬は、英国で初めて認可された薬剤であり、病気の進行を4ヶ月から6ヶ月遅らせることが示されている。とNICEの独立委員会は聞いている。しかしながら、2週間に1度の入院での点滴や副作用の集中的なモニタリングなど、この治療を提供するためのコストは、患者に提供される利益が比較的小さいことと相まって、納税者にとって良い価値があるとは考えられず、独立したNICE委員会は述べている。

本日我々は、限られたNHSの資金を費用対効果に見合わないという理由で、レカナマブのNHSでの使用を推奨しないガイドランス案を協議のために発表した。独立したNICE委員会は、利用可能な研究試験のエビデンス、家世界のデータを調査し、患者代表とその介護者から意見を聴取した。

英国NICE、リリーのアルツハイマー治療薬donanemabも推奨せず

英国の国立医療技術評価機構 (National Institute for Health and Care Excellence: NICE) は、2024年10月23日発表のガイドランス草案で、イーライリリー社のドナネマブ (Donanemab) について、この薬がもたらす「比較的小さい利益」と薬にかかる費用を考慮すると、「現在のところ納税者にとって良い価値とは言えない」としている。ガイドランス草案に対するコメントは、11月20日 (水) 午後5時まで受け付けている。

NICEは、エーザイのレカナマブについても8月にベネフィットは小さすぎると判断している。

以下は推奨事項の概要

**1 (推奨事項)**

1.1 ドナネマブは、アポリipoprotein (APO) E4ヘテロ接合体または非保有者である成人におけるアルツハイマー病による軽度認知障害および軽度認知症の治療には、販売承認範囲内では推奨されない。

1.2 この勧告は、このガイドランスが発行される前にNHSで開始されたドナネマブによる治療には影響しない。この勧告の範囲外で治療を受けている人は、このガイドランスが発行される前に行われていた資金援助の取り決めを変更することなく、本人とNHSの医療専門家が中止することが適切と考えるまで治療を続けることができる。

**委員会はなぜこの勧告を行ったのか。**

アルツハイマー病による軽度認知障害に対する現在の治療は最善の支持療法である。アルツハイマー病による軽度認知症の治療には「アセチルコリンエステラーゼ阻害薬 (塩酸ドネペジル、ガラントミンまたはリバスチグミン) が含まれる。ドナネマブは、アルツハイマー病のこれらの段階において、現在の治療と同時に使用されるであろう。

臨床試験から得られたエビデンスによると、現在の治療にドナネマブを追加した場合、認知機能は時間とともに悪化し続けるが、その速度はプラセボの場合よりも遅

オーストラリア規制当局は、レカナマブを治療薬として登録せず

オーストラリア医薬品庁 (Therapeutic Goods Administration: TGA) は、レカナマブ (LEQEMBI) をアルツハイマー病および軽度アルツハイマー型認知症 (早期アルツハイマー型認知症) による軽度認知障害 (Mild Cognitive Impairment: MCI) 患者の治療薬として登録しない決定を下した。

TGAのホームページによると、レカナマブの実証された有効性がこの医薬品の使用に関連する安全性リスクを上回らないという理由で、登録しないことを決定したと述べている。臨床試験データでは、LEQEMBIを投与された患者はプラセボを投与された患者と比較して夜間の進行が抑制されたことが実証されたが、この差は意味のある臨床上の有益性を提供したり、関連する安全性リスクを上回るほど有意ではないと判断した。特に、LEQEMBIを投与された患者においてアミロイド関連画像異常 (amyloid-related imaging abnormalities: ARIA) が頻繁に発生することを考慮したとしている。

7月には、欧州医薬品庁 (European Medicines Agency: EMA) の医薬品委員会が承認に否定的な見解を採択しているほか、英国も、8月にレカナマブのベネフィットは小さすぎると判断している。

ニュースソース

- Therapeutic Goods Administration: TGA's decision to not register lecanemab (LEQEMBI). <https://www.tga.gov.au/news/news/tgas-decision-not-register-lecanemab-leqembi>
- European Medicines Agency: Leqembi. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/leqembi>
- 英国NICEは、レカナマブのベネフィットは小さすぎると判断 (2024年08月23日掲載)

キーワード

EMA 早期アルツハイマー治療にレケンビ使用を推奨

欧州医薬品庁 (EMA) は、エーザイとバイオジェンのアルツハイマー型認知症治療薬「レケンビ (Leqembi / lecanemab)」に対するスタンスを転換し、以前検討していたよりも狭い集団での承認を推奨した。

EMAのヒト医薬品委員会 (human medicines committee) は2024年11月14日、APOE4 (タンパク質アポリipoprotein Eの遺伝子の特定の型) を1つまたは全く持たない初期のアルツハイマー病患者を対象に、レケンビに対する肯定的な意見を発表した。委員会は、これらの患者はアミロイド関連画像異常 (amyloid-related imaging abnormalities: ARIA) として知られる脳画像異常を経験する可能性が低い、脳の腫瘍や出血につながる可能性のある副作用であるとした。CHMPは、7月にレケンビの広範なアルツハイマー病患者への使用を推奨したが、2021年にバイオジェンの別のアルツハイマー病治療薬であるアデュヘラム (Aduhelm) を拒否した際には、ARIAを主要な懸念事項として挙げていた。

2つのARIAを経験した患者のサブグループ解析を参照し、制限された集団ではレケンビのベネフィットがリスクを上回ると述べた。制限されたAPOE4集団の中で、Leqembi患者の8.9%がARIA-Eを経験したのに対し、より広いLeqembi群では12.6%であった。また、制限されたグループでは、12.9%の患者がARIA-Hを経験したのに対し、より広範な患者では16.9%であった。ARIA-Eは脳内液貯留を伴うが、ARIA-Hは小出血を伴うとされる。

ニュースソース

European Medicines Agency: Leqembi recommended for treatment of early Alzheimer's disease. <https://www.ema.europa.eu/en/news/leqembi-recommended-treatment-early-alzheimers-disease>

キーワード



# レカネマブに係る費用対効果評価のあり方に係る論点

## 現状・課題

- レカネマブに関しては、市場規模が1500億円を超えると見込まれる医薬品として、通常の算定ルールとは別の取扱いを検討することが議論されている。
- また、レカネマブについては、介護費用に基づく評価に関する内容を含むデータが提出されている。
- 費用対効果評価の見直しに向けた議論においては、高額医薬品に係る価格調整範囲の見直しや、介護費用の軽減に係るデータの取扱いについて議論してきたところ。



## 論点

- レカネマブの取扱いについての全体の議論の中で、費用対効果評価における、価格調整範囲の見直しや、介護費用の軽減に係るデータの取扱いについて検討することとしてはどうか。
- 効率的に議論を進めるため、薬価専門部会との合同部会を開催して、議論を進めてはどうか。

# 介護費用の取扱いに係るこれまでの議論について

中医協 薬費－1  
5. 10. 27

## 費用対効果評価専門部会（令和5年10月4日）

- 介護費用の取扱いに関しては、背景や技術的課題の整理を踏まえて、対応を検討する必要があるのではないか。
- これまでの我が国の費用対効果評価の品目において、対象となる事例がなかったことを踏まえれば、個別品目に当てはめた議論を行う前に、まずは技術的な課題を整理し、議論を深める必要があるのではないか。
- 介護データベースに関しては、実際の治療がどうなっているのか等も含め、把握できることが必要と考える。
- 介護データベースも使いつつ、個別品目に対して少し時間がかかるかもしれないが費用対効果を評価することは、介護費用を含めた評価が可能かどうかを研究するにあたり、非常に重要ではないかと考える。

## 合同部会（令和5年10月18日）

- 介護費用の推計についてなど、まだ研究をすすめるべき技術的な課題も多くなり、引き続き研究をすすめるべきではないか。
- 介護データベースを用いることにより初めて明らかとなる課題もあるのではないか。
- 引き続き研究を進める必要がある現状をふまえると、介護費用にかかる制度の見直しは慎重に判断すべきではないか。
- 公的介護費用に含めるものについても検討が必要ではないか。
- 公的介護費用を含めた分析を進めるのであれば、体制を含めて慎重な検討が必要なのではないか。
- レケンビにおいて、公的費用を含めた分析を試行的に行い、改めて課題を把握すべきではないか。

# 介護費用の分析の取扱いに係る論点

中医協 薬費 - 1  
5 . 10 . 27

## 現状・課題

- 現行のガイドラインでも「公的介護費へ与える影響が評価対象技術にとって重要である場合には、公的介護の費用を含めた分析を行うことができる」とされているが、これまで、介護費用を含めた分析は行われていない。
- 専門部会における議論において、「介護費用の取扱いについて、介護費用を含めた分析についての研究の状況を見て判断すべきではないか」、「介護費用の軽減を医療保険の財源を使って評価することが妥当かどうか、深い議論が必要である」という意見があった。
- 諸外国において、公的介護の制度が異なるため一概に比較は困難であるが、介護の費用への影響を分析に組み込むこととしている国が複数ある。
- 我が国においては、公的介護に係る統一的なデータベースとして介護DBが整備されている。
- 製造販売業者から提出された薬価基準収載希望書では、承認審査に用いられた有効性・安全性に係る試験成績に関する資料以外に、介護費用等に基づく評価に関する内容が含まれている。
- 本日、有識者よりNDBと介護DB連結データ分析の特徴についてご説明いただいた。

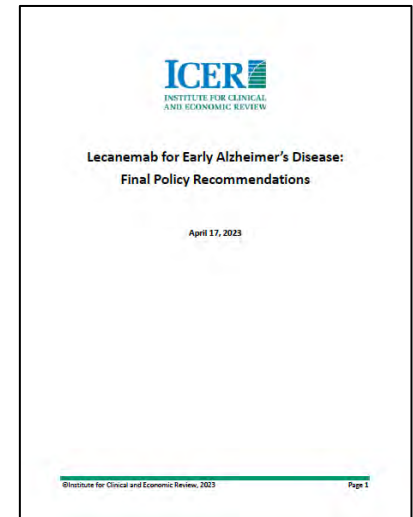
## 論点

- 介護費用の分析の取扱いに関しては、NDBと介護DB連結データ分析の特徴も踏まえ、研究を進めることについてどのように考えるか。
- 今後の議論の進め方として、費用対効果評価制度の試行的導入時を参考に、研究の内容や成果もふまえて最終評価の在り方を検討することについてどう考えるか。

# レカネマブの費用対効果評価の課題（私見）

- 認知症の重症度による医療費の差異はそれほど大きなものではなく、医療費への影響だけではレカネマブの価値評価は不十分。
  - ✓ （米国レポートでは、「サポータティブケア」単独に比べ、レカネマブ上乗せは、さまざまな不確実性もあり、「有望であるが結論は出ない」とされている。）
- レカネマブのによる重症予防の経済的効果は、介護費や介護に関わる家族の負担感・労働生産性への影響が大きい。
- 個々の患者の費用だけでなく、社会全体への財政影響も考慮すべきではないか。
  - ✓ レカネマブ投与対象とならなかった患者のPETや脳脊髄液検査、他の疾患関連で新たに発生する医療費、介護費、医療機関へのアクセスなど。
- 実際の重症度とは無関係に、より多く使われることもある介護サービス利用をRWDで補足できるか。

1. 坂巻 弘之：【識者の眼】新しいイノベーションに対して多面的な価値評価とともに、財政影響、RWDによる検討も。日本医事新報2023年10月28日号（5192号）p.58
2. Institute for Clinical and Economic Review: Lecanemab for Early Alzheimer's Disease: Final Policy Recommendations. April 17, 2023 [https://icer.org/wp-content/uploads/2023/04/ICER\\_Alzheimers-Disease\\_Policy-Recommendations\\_04172023.pdf](https://icer.org/wp-content/uploads/2023/04/ICER_Alzheimers-Disease_Policy-Recommendations_04172023.pdf)



# イノベーションがもたらす価値に基づく薬価算定は重要 – しかし :

The screenshot shows the website for Pharma Policy Planning P-Cubed. The main article is titled "米国費用対効果研究所、根拠のない薬価引き上げ5品目". The text discusses a report from ICER (Institute for Clinical and Economic Review) regarding price increases for five drugs in the US. The drugs listed are Biktarvy, Darzalex, Entresto, Cabometyx, and Xeljanz. The report states that these drugs have price increases without sufficient evidence. The article also mentions that the National Pharmaceutical Council (NPC) has criticized the report. A comment from the author is included, stating that ICER's evaluation is based on economic perspectives and that value-based pricing is not necessarily the best solution. The article is dated December 12, 2024.

PP 一般社団法人  
医薬政策企画 P-Cubed  
Pharma Policy Planning P-Cubed

キーワードを入力

賛助会員募集 会員ログイン

お問い合わせ 個人情報保護方針

注目記事

P-Cubed について 国内不足情報 研究レポート 供給不足情報 医薬政策情報

## 米国費用対効果研究所、根拠のない薬価引き上げ5品目

ホーム > 医薬政策情報 > 費用対効果・高額医療技術・薬価 > 米国費用対効果研究所、根拠のない薬価引き上げ5品目

米国の非営利組織、臨床経済研究所 (Institute for Clinical and Economic Review: ICER) は、2024年12月12日、米国の処方薬の価格に関するレポート「Unsupported Price Increase: UPI」レポートの2023年版を公表した1)。報告書では、2023年に大幅な純価格上昇が行われた医薬品のトップ10に焦点を当てている。また、報告書では、トップ10医薬品のうち5種類は価格上昇を裏付ける十分な証拠を欠いていると判断し、その結果、2023年に米国の支払者に合計8億1,500万ドルの追加コストが増加したとする。価格上昇の根拠がないとされる5つの薬は、Biktarvy (ギリアドのHIV/AIDS治療薬)、Darzalex (J&Jの多発性骨髄腫治療薬)、Entresto (ノバルティスの心臓薬)、Cabometyx (エクリクシスの抗がん剤)、Xeljanz (ファイザーの炎症性疾患、自己免疫疾患治療薬)。Biktarvyは、値上げによって最も支出が増加した医薬品で、ギリアドは卸売価格を5.9%値上げしたが、レポートと割引を考慮した正味価格は3.8%上昇した。

本報告書の公開同日 (12月12日)、非営利団体 (ただし、極めて業界寄り) である全米製薬協議会 (National Pharmaceutical Council: NPC) は、「ICERのUPI報告は益より害をもたらす続ける」と批判的な意見を公開した2)。ICERは、2019年以降、毎年UPIを公開しており、2024年12月3日には、NPC所属の著者によるUPI分析の「誤り」を指摘する論文を発表している (参照: [米国費用対効果研究所の薬価上昇の分析には誤りがある](#))。

(坂巻コメント: ICERは、医薬品の価値について経済的視点から、比較的透明性の高い評価を行っている。また、ICERのレポートは、いくつかの医薬品は、その価値以上の高額な価格設定になっているとしている。すなわち、価値評価が必ずしも妥当な価格設定につながらないことを示したともいえる。日本でも、製薬業界団体は、新薬の薬価算定においてその医薬品の価値評価が十分ではないと主張している。日本企業は、価値評価の具体的方法論を示していない (示していない) が、少なくとも、価値評価で企業が望む価格にならないことがあることも理解しておくことが重要である。逆に、費用対効果評価の信奉者たちは、価値以上に高額になってしまう問題があることも知っておくべき。)

ニュースソース

1. Institute for Clinical and Economic Review: Unsupported Price Increase Report—Unsupported Price Increases Occurring in 2023.  
[https://icer.org/wp-content/uploads/2024/12/UIP\\_2024\\_Report\\_121224.pdf](https://icer.org/wp-content/uploads/2024/12/UIP_2024_Report_121224.pdf)

すべてが高薬価になるわけではない!

## イノベーション評価の論点

- ヘルスエコシステムを刺激し、持続的なイノベーションのためにも、適切なイノベーション評価（価値評価）の仕組みが必要。
- 価値評価実装について具体的な議論が必要。

（現行の「費用対効果評価」は、イノベーション評価の仕組みとして適切か？）

- Affordability（支払い可能な財政影響か）の議論は不要か？
  - ✓ 薬剤費コントロールの議論は不要か？・・・薬剤費を経済成長率なみに伸ばすことの意味？  
産業の魅力度：薬価設定との関係、産業の成長率？
  - ✓ すべての新医療技術を保険償還すべきか？／償還率の差異化？





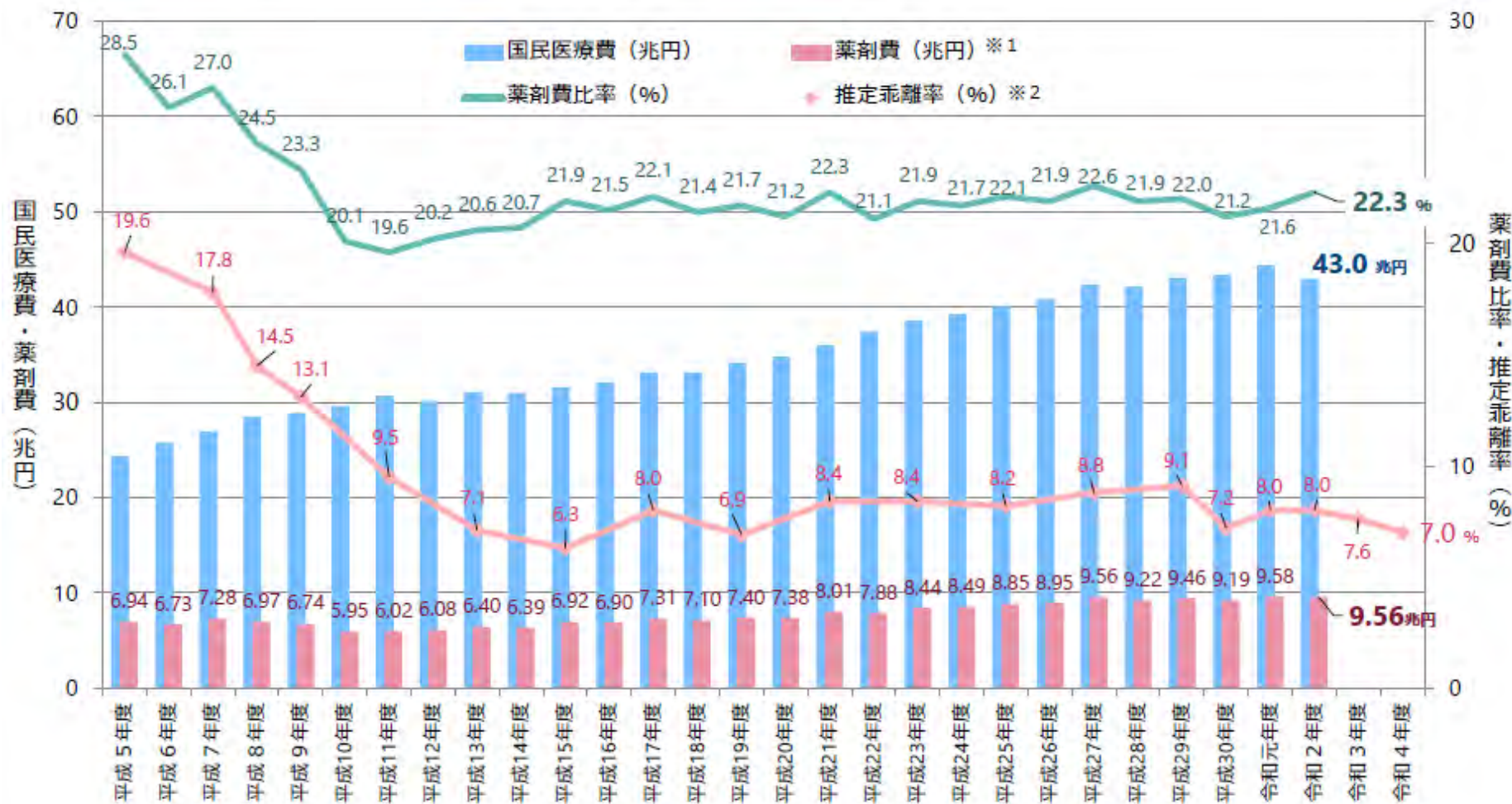
## **AFFORDABILITYからの課題：薬剤費（医薬品支出）の問題**



# AFFORDABILITYからの課題：薬剤費（医薬品支出）の問題

- 薬剤費コントロールの必要性／コントロール策
- 薬剤費推計方法と市場の魅力度議論
- 薬価改定のあり方
- 保険収載の範囲
- 償還率の差異化

# 国民医療費、薬剤費等の推移



※1 薬剤費には、DPCを基とする薬剤費が包括して算定される場合は含まれていない。

※2 薬価調査で得られた平均乖離率をその年度の推定乖離率としている。

令和元年度の推定乖離率は、平成30年4月の薬価に対する乖離を示す。

## 医療費（薬剤費）推計方法（データの種類）

- **国民医療費**：給付額、ただし、医薬品の包括評価部分は不明
  - ・ 保険償還の医薬品市場規模
  - ・ 自費による再生医療は含まれない、輸出部分が含まれないなど、医薬品産業力の評価には不向き
- **OECD基準**：支出額ベース、The System of Health Accounts; SHAに基づき推計
  - ・ 公的カバー以外（OTCなど）、予防、管理費、設備投資も含む
  - ・ 日本の公的支出部分の医薬品費（支出）については、外来医薬品費のみ（かなり誤差大きい）
- **ILO基準**：給付額ベース、基本的な推計枠組みはSHA
  - ・ 医薬品については外来医薬品費のみ。上記と同様の課題あり
- **IQVIA**：国内出荷額、集計によりどこまで含まれるか不明、バイオ医薬品にワクチンや再生医療が含まれたり、含まれなかったり
  - ・ 定義をしっかりとすることで、国際比較に用いられやすい
  - ・ 国による医薬品承認・償還に違いがあることに留意
  - ・ 輸出入は含まれないので、製薬産業力といえるかどうか注意
- **薬事工業生産動態統計**：工場出荷額ベース、再生医療、輸出も一部含まれる  
（モノとしての輸出入については財務省貿易統計、技術の輸出入については総務省「科学技術研究調査報告」技術貿易収支）

# 薬剤費に影響を与える要因

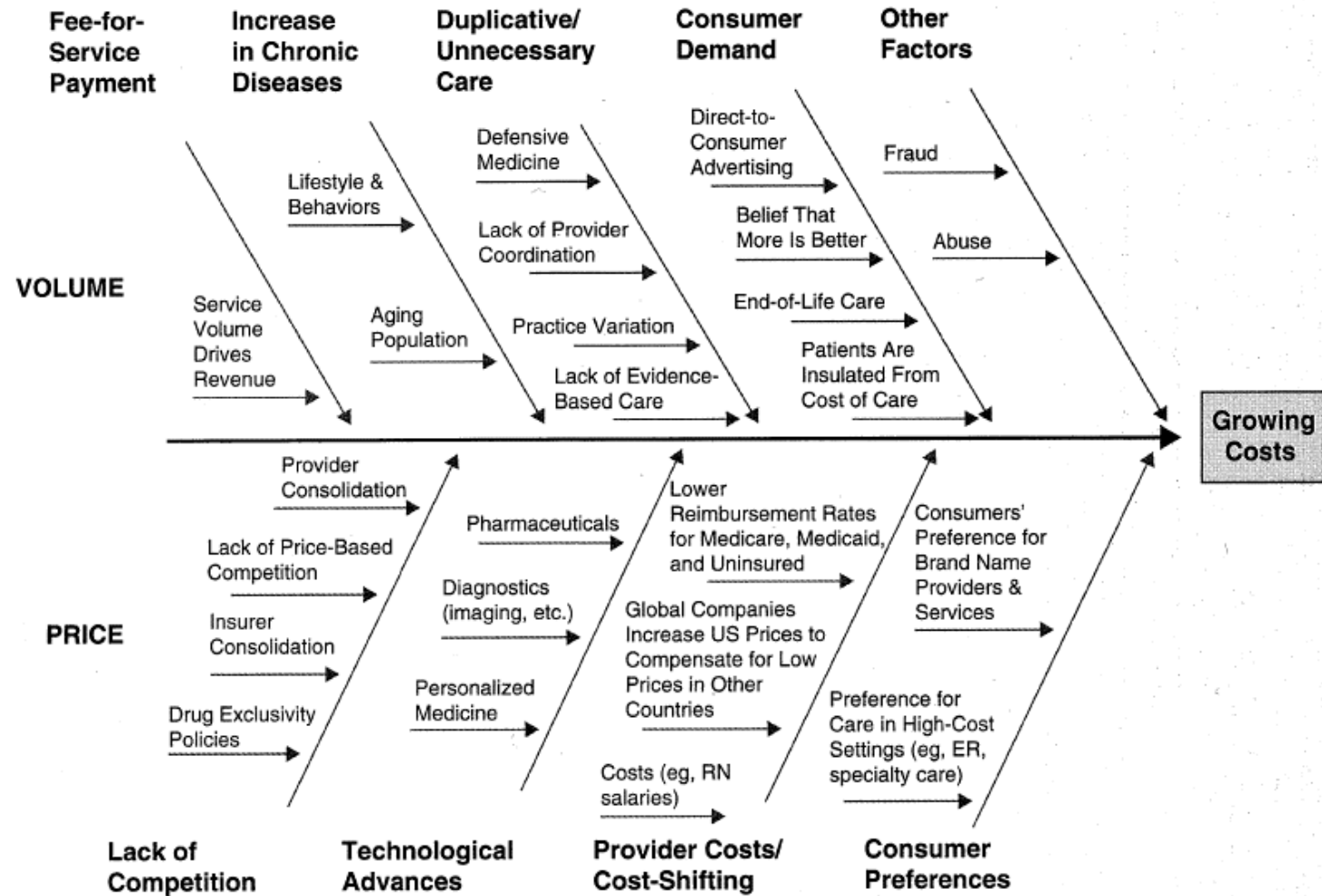


Figure 6-15 • Volume and Price Drivers of Growing Costs. ER, Emergency Room; RN, Registered Nurse.

## 諸外国（欧州）での薬剤費コントロール策

償還価格引下げ	公的制度での償還価格引下げ。
償還対象医薬品の制限	公的制度での償還対象(coverage)品目の限定（ポジティブリスト）。英国、韓国など
償還割合の引下げメリハリ	疾病や医薬品の種類・特性等に応じて、償還割合を変更。フランス
リスクシェアリング Managed Entry Agreement	支払と企業の合意の下、効果や市場規模の変化に応じて価格引下げ、あるいは割戻し。イタリア、韓国など
処方数制限	処方数の制限、処方せんへの記載欄の制限。ドイツ（義務ではない）
フォーミュラー・パスウェイ ガイドライン	推奨医薬品リストやガイドラインなどによる効率的な処方を促す。英国、米国HMOなど
後発医薬品・ バイオシミラー使用促進	特許切れ新薬から安価な後発医薬品・バイオシミラーへの変更を促す。 <small>政策課題分析シリーズ</small>
参照価格制度	一定の償還基準（参照価格）を設定し、参照価格を超える価格の医薬品については、超過額を患者の自己負担とする。 ドイツ、多くの欧州諸国
「免責制」	一定額までは公的制度での償還対象外とする。
一般用医薬品使用促進・ 一般用医薬品へのスイッチ	OTC薬の使用推奨、OTCへの転換促進。英国など
薬剤費総額のコントロール （予算管理）	薬剤費総額（外来、入院等分野別）を予算制とし、管理。フランスなど 個々の医師に対する予算割り当て。ドイツ
企業の利益コントロール	企業の利益率等に応じて価格引き下げ。英国
費用対効果評価	新薬の費用対効果を評価し、その結果に応じて保険収載可否や償還価格を調整・決定。
疾病管理	慢性疾患等のハイリスク群の住民・患者に対して、重症化予防等を行い、重症化した状態で使用される高額薬剤費の使用をコントロール。



# 薬価改定の行方？

薬価引き下げによる社会保障制度持続と産業持続、安定供給を、どのように鼎立させるのか？

- 毎年改定の是非
- 事情実勢価に基づく薬価改定と薬価差（薬価差の存在の是非、薬価差の意味、国民への還元）
- 「行き過ぎた」薬価差益の是正 = 新しい医薬品流通モデルに沿った流通近代化の議論（私見）
  - ✓ メーカーが納入価に責任を持つこと
  - ✓ 一次売差補填のためのアローアンス、リベートの禁止など

# 海外での高額医療技術の価格設定・償還に関する議論

- 費用対効果評価
- リスクシェアリング/アウトカムベースの支払い
- 分割払い

The screenshot shows the website for P-Cubed (Pharma Policy Planning P-Cubed). The main article is titled "米国CMSが細胞・遺伝子治療アクセス研究計画書を公開". The content discusses the Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS) in the US, which has approved two new cell and gene therapy access models. The article mentions that the models are being tested starting from June 28, 2024. It also notes that the models are being implemented in a pilot program from January 2025 to 2035. The article includes a link to an infographic and a comment section.

米国CMSが細胞・遺伝子治療アクセス研究計画書を公開

ホーム > 医薬政策情報 > 費用対効果・高額医療技術・薬価 > 米国CMSが細胞・遺伝子治療アクセス研究計画書を公開

米国メディケア・メディケイド・サービスセンター(Centers for Medicare and Medicaid Services)は、鎌状赤血球症に対して承認された2つの新しい遺伝子治療薬へのアクセスが、アウトカムベースの合意によって改善されるかどうかの試験を開始する。2024年6月28日、CMSは、細胞・遺伝子治療アクセスモデルのホームページ1)と、州に対する「申請依頼書 (Request for Applications for States)」2)を公開した。「製造業者に対する申請依頼書 (Request for Applications from Applicable Manufacturers)」は3月に公開されている(下記に要約)3)。またFAQ(よくある質問)のページも6月28日に公開されている4)。

CMSのパイロット・プログラムは、「細胞・遺伝子治療アクセスモデル (CGTアクセスモデル: Cell and Gene Therapy Access Model)」と呼ばれ、2025年1月から2035年まで実施される。当初は、鎌状赤血球症遺伝子治療薬である「Casgevy (バーテックス・ファーマシューティカルズ、CRISPRセラピューティクス、1回投与あたり220万ドル)」と「Lyfgenia (ブルーバード・バイオ、1回投与あたり310万ドル)」が対象となる。

このモデルでは、「アウトカムベースの合意 (outcomes-based agreements: OBA)」と呼ばれる、特定の成果が得られなかった場合に企業がリベートを支払わなければならないという契約を締結する。さらにOBAを、各州が企業とうまく交渉し、実施できるようにすることを目的としている。CMSは、鎌状赤血球症患者の約50%から60%がメディケイドに加入しており、鎌状赤血球症の全国的な年間総費用は年間約29億8,000万ドルであると推定している。

[CellGeneTherapyModel infographic](#)

(坂巻コメント) アウトカムベースの支払い方式のわが国への導入は難しさがあるが、効果のあやふやな再生医療・遺伝子治療等を混合診療にしたり、民間保険に任せるなどの議論より、試行的取り組みとして参考になる部分が多いと思われる。

ニュースソース

1. CMS: Cell and Gene Therapy (CGT) Access Model.  
<https://www.cms.gov/priorities/innovation/innovation-models/cgt>
2. CMS: Cell and Gene Therapy Access Model- Request for Applications for States.  
<https://www.cms.gov/files/document/cgt-model-rfa.pdf>

# QALYに基づく倒錯した推奨 **Perverse** QALY-based Recommendations

The screenshot shows the website for P-Cubed (Pharma Policy Planning P-Cubed). The page title is '【論文】QALYをめぐる議論を前進させるには'. The article text discusses the 2024 Health Care for All Patients Act (HR485) and the authors' concerns about QALY-based recommendations. It highlights that QALY is differential, meaning that for some groups, the value of QALY is lower, which can lead to perverse recommendations where higher-risk groups are prioritized. The authors argue for a more holistic approach to healthcare that considers equity and the needs of vulnerable populations.

【論文】QALYをめぐる議論を前進させるには

ホーム > 医薬政策情報 > 費用対効果・薬価高騰技術・医療 > 【論文】QALYをめぐる議論を前進させるには

2024年2月7日、下院は「すべての患者のための医療保護法 (Protecting Health Care for All Patients Act of 2023: HR485)」を可決した (既報、1)。さらに、この法案に対し、ロバート・カプラン教授、ピーター・ノイマン教授、ジョシュア・サロモン教授、マルテ・ゴールド教授という著名な医療経済評価の大家たちがHEALTH AFFAIRS FOREFRONT上で失望を表明している (既報、2)。本論文の著者たちは、すべてのアメリカ人の健康利益を最大化するために、嗜好に関するデータと経済学のツールを用いて医療プログラムに優先順位をつけることを求めていることに共感すると述べている。

QALYが差別的であるのは、余命1年が病気の集団にもたらされると、その価値が低くなるという意味である。この性質は、QALYモデルの2つの重要な仮定から導かれる。

①病気の集団は、一定の寿命延長から得られるQALYが少ないこと。  
②QALYの増加は病気の集団と健康な集団で同じ価値があること。

多くの研究者は、差別をなくす手段として、最初①の仮定を捨てることを提案している。例えば、健康関連のQOLを考慮することなく、単純に生存年数を測定することを提案する研究者もいるが、本論文の著者らは、この仮定を捨てることは間違いであり、むしろ差別的となるリスクがあると述べている。

一方で、2つ目②の仮定にも問題があり、健康関連QOLを少しでも向上させるためには、健康な患者よりも病気の患者の方がより多くの医療費を支払うことを厭わないということが、現在では十分に確立されている。QALYはこのことを説明することができない。また、QALYの価値が等しいという仮定は、消費者がリスクに無関心であることを意味するが、経験的証拠はそうではないことを示唆している。

現実の世界では、がん患者がしばしば新しい治療や実験的な治療を求めるのに対し、健康な人はそれを避けることは広く知られている。このような行動は、病気の患者が健康な人よりも健康へのわずかな改善を重視するのであれば、不合理ではない。QALYはこの経験的知見を説明することができないため、勃起不全に対するバイアグラの処方や腎移植よりも費用対効果が高いといった、QALYに基づく倒錯した (perverse) 推奨につながる可能性がある。

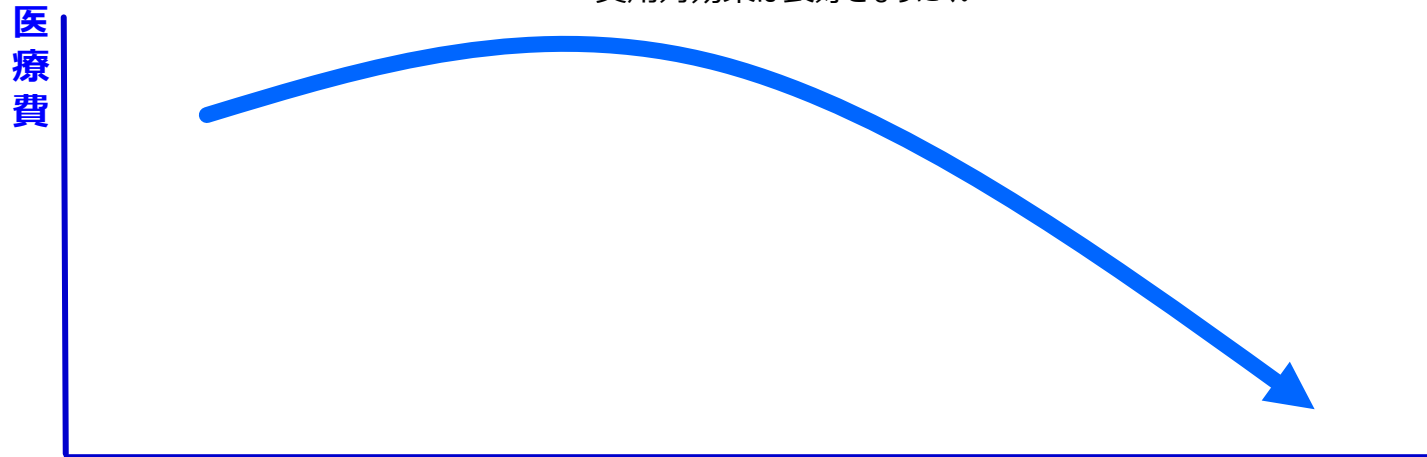
QALYが「がん患者や障害者のような集団を切り捨てる」リスクをもたらす。なぜなら、これらの集団の延命に対する価値が低くなると、価値に基づく価格が低くなり、弱い立場にある患者のために技術革新を行ないインセンティブが弱まるからである。この点で、QALYsに依存し続けることは、長期的な健康の公平性を脅かす可能性がある。

それにもかかわらず、医療を合理的に配分するためには厳密な経済学的アプローチが不可欠であることを著者らは主張する (以下、難解)。

著者らは、一般化リスク調整費用効果 (GRACE) モデルを用いれば、医療における公平性の向上が可能であることを示した。このモデルは、QALYを拡張し、病人と健康者の様々なリスク姿勢を捉えることで、患者、政策立案者、米国民が表明する明らかにされた嗜好と、表明された嗜好をより一致させるものである。GRACEは、病気の患者ほど、与えられた健康改善に大きな価値を置く可能性を認めている。経済学で「収穫逦減」の原理として知られるこの原理は、例えば、極度の貧困状態にある家族の状況を改善するために支払われる100ドルが、裕福な家族に支払われる100ドルよりも価値が高い理由を説明する。この原理を健康に当てはめると、慢性的な病気や障害を持つ人ほど、健康の改善に価値を置くことになる。これは、標準的な費用対効果分析とは対照的であり、障害を持つ人々が健康増進から得る価値は、それ以上でもそれ以下でもないことが多い。収穫逦増の重要性を認識することで、GRACEは障害者に対する差別を緩和する。最も重要なことは、健康に対する経

# Lewis Thomas: 医療技術の発展段階と医療費(1974)

イノベーションは漸増的  
(**incremental**) であり、  
費用対効果は良好となりにくい



**無技術\***  
(non-tech)

技術とはいえないもの  
ただし、医療にとっては  
不可欠

支持的療法、看護/など

**中間的技術**  
(halfway tech)

疾病の最終結果を対象  
とした延命技術  
真の高度技術確立前の  
「つなぎ」

臓器移植、人工臓器、  
がん治療/など  
一見華々しい

**高度技術**  
(high tech)

疾患のメカニズムの完全  
な理解から生み出された  
「決定的技術」

予防接種、抗生物質・  
化学療法、ホルモンによる  
内分泌疾患治療/など



Lewis Thomas: The Future Impact of Science and Technology on Medicine. Bioscience, 24:99-105, 1974

Thomasは生物学者であるため、技術の範囲を狭くとらえている。



## 英国NICE、費用対効果評価の閾値変更を議論

ホーム > 医薬政策情報 > 費用対効果・高額医療技術・薬価 > 英国NICE、費用対効果評価の閾値変更を議論

2024年12月13日、英国の国立保健医療研究所 (National Institute for Health and Clinical Excellence: NICE) は、ホームページで、NICEの費用対効果基準値をめぐる現在進行中の議論と今後の展望について公開した。

一般的にNICEは、QALY追加獲得1件あたり2〜3万ポンドの医薬品を、NHSにとって費用対効果の高い医薬品とみなしている。つまり、ある医薬品が費用対効果に優れているとみなされるためには、通常、2万ポンドから3万ポンド以下で、1年間の完全な健康状態（またはそれに相当する余命の延長とQOLの改善）をもたらす必要がある。NICEの基準値は長年変更されていないが、医薬品の価格は上昇し続けている。このため、製薬会社と患者団体の双方から、より高価な医薬品をNHSで利用できるようにするため、基準値を引き上げるよう求める声が上がっている。逆に、NICEが閾値を引き下げるべきだという提案は、患者に届く革新的な新薬が少なくなることを危惧する同じ利害関係者から警戒される可能性がある。

閾値に関する議論は進化し続けているが、NICEが新薬を評価する際の焦点は、公的医療制度を維持しつつ、患者に最良の結果をもたらすために、イノベーションと財政的な持続可能性のバランスをとる決定を下すことである。現在の基準値は2028年末まで固定されており、合意された期間中、すべての利害関係者に安定性と確実性を提供するものである。

### ニュースソース

National Institute for Health and Clinical Excellence: Should NICE's cost-effectiveness thresholds change?

<https://www.nice.org.uk/news/blogs/should-nice-s-cost-effectiveness-thresholds-change->

📅 2024年12月16日

## オーストラリア 医療技術評価の方針と方法の見直しの最終報告書を公表

ホーム > 医薬政策情報 > 費用対効果・高額医療技術・薬価 > オーストラリア 医療技術評価の方針と方法の見直しの最終報告書を公表

オーストラリア政府は、2024年7月9日、医療技術評価の方針と方法の見直しの最終報告書を公表した1)。

オーストラリアでは、医療技術評価は、①医薬品給付制度、②メディアケア給付スケジュール、③全国予防接種プログラム、④救命医薬品プログラムにおいて用いられ、評価視点には、費用対効果以外にも、品質、安全性、有効性 (効能 efficacy と効果 effectiveness) が含まれる。

医療技術評価の手法は常に進化しているため、定期的に見直し、更新する必要がある。そのため、オーストラリアでは、2021年9月の医薬品業界との戦略的協定 (Strategic Agreements with the Medicines Industry) 2) における見直し合意に基づき、参照委員会 (reference committee) 3) が組織され、見直し作業が行われてきた。委員会は、2名の患者代表を含む7名から構成され、レビューは3施設によってなされ、レビュー期間中、2回のコンサルテーションが行われ、係者が意見を述べる機会が設けられた。

レビュー結果は、医療技術評価政策・手法レビュー調査・分析論文として公開されている4)。

### 1. アデレード大学 (Adelaide Health Technology Assessment – AHTA)

論文1: 国際的な医療技術市場の承認、資金調達、評価の経路

論文2: ホライゾンズキャンと早期価値評価

論文3: HTAの手法: 集団介入比較アウトカム (PICO) の決定

論文4: HTAの方法 臨床評価

添付資料1: 詳細な国別プロフィール

論文1〜添付資料まで

"HTA Pathways and Processes, Clinical Evaluation Methods and Horizon Scanning." としてまとめられている。

### 2. シドニー工科大学 (Centre for Health Economics Research and Evaluation – CHERE)

論文5: HTAの手法 経済評価

論文6: 資金調達と購買の決定と不確実性の管理

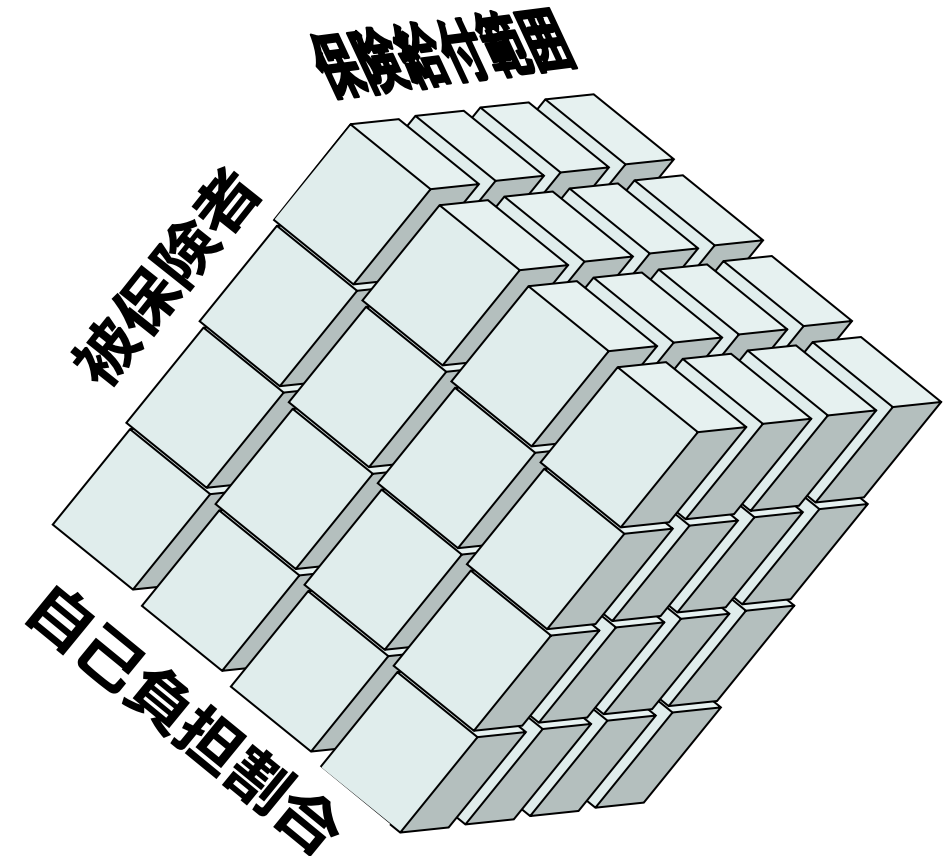
# 国民皆保険とは？

国民（有資格の外国人も含む）がすべて加入していれば「皆保険」ではない。

国民皆保険といえるか？

- ✓ 自己負担割合が5割を超える制度
- ✓ 高額な抗がん剤は保険償還されない（保険で使えない）制度

- ✓ 今後もすべての薬事承認医薬品を保険収載し続けることは可能か？
- ✓ 同じ償還割合でよいのか？ 同じ償還方法でよいのか？（risk-sharingの導入など）
- ✓ 新しい償還方法をどのように導入（実装）するのか？





---

## ある会合で頂いた質問

- ✓ 日本のヘルスエコシステムは壊れているのでは？

# まとめ

## 製薬産業とヘルスケアエコシステム

- ヘルスケアエコシステムの持続性の視点で、産業振興、イノベーション、後発医薬品とバイオシミラー、薬価、医療費、安定供給、流通のあり方についての議論が必要

## ヘルスエコシステムにおける薬価制度

- 薬価制度（価格設定と償還）はヘルスエコシステムにおける多面的機能をもつ
  - ✓ 医療費コントロール、イノベーションへのアクセスによる福利向上
  - ✓ 医薬品産業の持続可能性、持続的なイノベーションと刺激、安定供給
- 適切なイノベーション評価と受け入れ可能な価格設定の仕組みが必要

## イノベーション評価のあり方

- 価値評価実装について具体的な議論が必要
- Acceptability/Affordabilityの議論も併せて継続すべき

## 薬剤費コントロールとのバランス

- 薬事承認された新医療技術の保険償還の仕組みについて、新たな議論が必要（企業側から具体的な意見を）