

## 医療経済評価の手法を用いた小児慢性疾病に関する研究

研究分担者 田倉智之(東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学)

### 研究要旨

治療期間が長く医療費負担が高額となる場合も散見する「小児慢性特定疾病」については、適切な患児の診療や成育のみならず家族等の社会的な支援促進の観点から、医療経済学に関連した議論も望まれる。本研究は、最初に医療経済学の概念の整理を行い、続いて診療価値評価の手法の整理を進めた。また、関連する先行研究のサーベイを実施し、その成果を小児慢性疾患の医療経済的な評価方法の検討に反映した。特に、費用対効果分析および支払意思額調査について整理を試行した。海外の僅かな事例ではあるが、費用対効果の成績が比較的良好な小児 ITP の治療評価の報告(Prednisone から Anti-D、Anti-D から IVIG への増分費用効果比(ICER)は、53,333US ドル/QALY、53,846US ドル/QALY)や、高い支払意思額を認める小児喘息の治療評価の報告(1ヶ月当たりのWTPは、56.48US ドルから64.84US ドルで、症状のある日数の50%の減少(およびそれに伴う心理社会的ストレスの減少)を評価)が散見した。以上から、限定的ながらも本研究における調査の結果、前述の手法は、当該領域における医療経済的な評価への応用の可能性が示唆された。

### 研究協力者:

無し。

#### A. 研究目的

治療期間が長く医療費負担が高額となる場合も散見する「小児慢性特定疾病」については、適切な患児の診療や成育のみならず家族等の社会的な支援促進の観点から、医療経済学に関連した議論も望まれる。特に、保険財政等の医療を取り巻く環境が変遷する昨今の潮流から、経済的に小児医療を支える国民の理解の醸成も不可欠であり、社会経済的な関連データの整備等が必要と思慮される。

以上を踏まえ、本研究は、当該領域の診療等の医療経済的な価値の見える化に必要な理論や手法を検討し、今後予定される実態調査の準備等を行った。特に、支払意思額等による診療価値の説明力や分析の具現性について考察を行った。なお、この検討においては、海外の関連研究もサーベイし、得られた結果を手法等の検討に反映した。

#### B. 研究方法

本研究は、最初に医療経済学の概念の整理を行い、続いて診療価値評価の手法の整理を進めた。また、関連する先行研究のサーベイを実施し、その成果を小児慢性疾患の医療経済的な評価方法の検討に反映した。

##### (1) 医療経済学系の概念整理

医療経済学は、境界領域のため学際的なすそ野が広いと考えられる。また、医療に関連する価値観は、国民性や制度(システム)の影響が占める割合が高い傾向にある。以上から、医療経済学の基本理念の整理は、国民皆保険制度を基盤とする我が国における例を中心に行った。必要な情報の収集は、国内外のデータベースを対象とし、海外への情報発信を旨とした学術論文を中心に、最新の動向(2018年以降)の文献情報に限定して実施した。

##### (2) 診療価値評価の手法整理

医療分野の価値評価については、多様性があるうえ主観測定の確立が十分でない等を背景に、一般に定量化の限界が論じられてきている。一方で、

社会システム評価の一環として、限られた医療資源の適正配分への応用も期待され、学際的な模索も続いている。この一つのアプローチとして、支払意思額(Willingness to pay: WTP)の調査手法が発展してきている。そこで本研究は、当該領域における WTP の有効性を中心に整理を試行した。

### (3) 先行研究のサーベイ調査

医療経済評価の一部である HTA (Health technology assessment) として、患者アウトカム (患者効用と生命予後から構成) に基づく費用対効果分析の検索を実施した。さらに、小児慢性疾患に関わる WTP の研究事例を収集した。サーベイは、米国の NIH(National Institutes of Health) 内の.nlm(National Library of Medicine)のデータベースである PubMed を対象に、2000 年以降の文献を検索した。なお、文献の種別として、コメントやケースレポートを除外した。

## C. 研究結果

### (1) 医療経済学の概念<sup>1)</sup>

医療経済学は、医療分野における様々な問題を扱う医学と経済学の融合領域である。それは、医療制度や臨床現場における多様な現象(技術、経営、政策等)を、計量経済、価値評価、意思決定、行動科学などを含む経済学の手法や医療統計学なども用いて分析し、医療システムの発展や国民の健康福祉の向上に寄与することが主旨になる。

特に、医療分野に携わる立場から、患者・家族や国民の幸福(効用や健康等)の最大化を実現するためのアプローチを考察することが重要と考えられる。また、社会的な公平性の観点から、医療資源(例: 公的な医療財源等)を合理的に配分する議論に対して、学術的に理念や根拠を示すことも期待されている(図1)。

### (2) 支払意思額

支払意思額の調査は、ある消費行動(製品やサービス選択、例えば医療においては診療サービス)に対して「最大限いくらまでなら支払うことが受け入れられるか」を測定するものである。主な調査方式として、仮想評価法(Contingent Valuation Method; CVM)等があり、消費者がサービスを利用する際に、多数の選択肢から商品を決めるのか、関わる選択意識を分析する

調査手法である(図2)。なお、評価額の信頼性を大きく下げるバイアスも懸念され、最近は、過大評価の問題に注目した研究も散見する。

### (3) 先行研究のサーベイ

小児慢性疾患の費用対効果分析の報告は、特発性血小板減少性紫斑病(Idiopathic thrombocytopenic purpura: ITP)に対する静注用免疫グロブリン製剤(IVIg)の評価が1編選択された<sup>2)</sup>。研究の結果、Prednisone から Anti-D、Anti-D から IVIG への増分費用効果比(ICER)は、53,333US ドル/QALY、53,846US ドル/QALY だった。また、患者の体重は結果に影響を与える要因だった。

小児慢性疾患に対する支払意思額(WTP)の研究報告は、小児喘息を対象としたものが1編選択された<sup>3)</sup>。内容は、喘息罹患率の減少に対する世帯単位の支払意思額を推定した研究であった。結果として、1ヶ月当たりの WTP は、56.48US ドルから 64.84US ドルで、症状のある日数の 50%の減少(およびそれに伴う心理社会的ストレスの減少)が評価された。

## D. 考察

### (1) 医療分野の特異性に配慮

医療は、生命や健康を扱うため、通常市場原理や経済理論を応用するのに、一定の制約があると思慮される。また、医学特有の不確実性等から、経済性や価値等を定量的に取り扱うのに、一定の限界も存在する。特に小児疾患は、小児期の身体や臓器の成長・発達・成熟のみならず、家族との関係や育成との関係、様々な診療科を受診する必要がある等、医療の中においても、より特異な領域と考えられる。以上から、医療経済的な検討においても、これらの側面に十分な配慮が望まれる。

### (2) 小児慢性疾患の価値評価

医療を取り巻く経済環境が厳しさを増すなか、小児医療分野へ社会資本を適切かつ継続的に投入するためには、当該領域の疾病対策の意義や治療介入の価値等を、国民や関係者により積極的に説明していくことが望まれる。その手法として、費用対効果や支払意思額等の方法論の検討が挙げられ、今後、その有用性を検証することは、益々重要になると思慮される(図3)。ただし、国内

外の関連研究はまだ十分とは言えない。

## E. 結論

本研究では、小児慢性疾患の医療経済学的な評価手法の検討を行った。特に、費用対効果分析および支払意思額調査について整理を試行した。海外の僅かな事例ではあるが、費用対効果の成績が比較的良い小児 ITP の治療評価の報告や、高い支払意思額を認める小児喘息の治療評価の報告も散見した。以上から、限定的ながらも本研究における調査の結果、前述の手法は、当該領域における応用の可能性が示唆された。

## F. 研究発表

### 1. 論文発表

- 1) Tomoyuki Takura, Takashi Takei, Kosaku Nitta. "Socioeconomics of Administering Rituximab for Nephrotic Syndrome". Contributions to Nephrology. 2018;195:110-119.

### 2. 学会発表

無し。

## G. 知的財産権の出願・登録状況(予定を含む。)

### 1. 特許情報

無し。

### 2. 実用新案登録

無し。

### 3. その他

無し。

## H. 参考文献

- 1) Tomoyuki Takura. Background and Current Trends in Medical Economics Research in the Circulatory Field. Circ Rep. 2018;0:11-14.
- 2) Blackhouse G, Xie F, Levine MA, Campbell K, Assasi N, Gaebel K, O'Reilly D, Tarride J, Goeree R. Canadian cost- utility analysis of intravenous immunoglobulin for acute childhood idiopathic thrombocytopenic purpura. J Popul Ther Clin Pharmacol. 2012;19(2):e166-78. Epub 2012 May 1.
- 3) Brandt S, Vásquez Lavín F, Hanemann M. Contingent valuation scenarios for chronic illnesses: the case of childhood asthma. Value Health. 2012 Dec;15(8):1077-83. doi: 10.1016/j.jval.2012.07.006. Epub 2012 Oct 1.

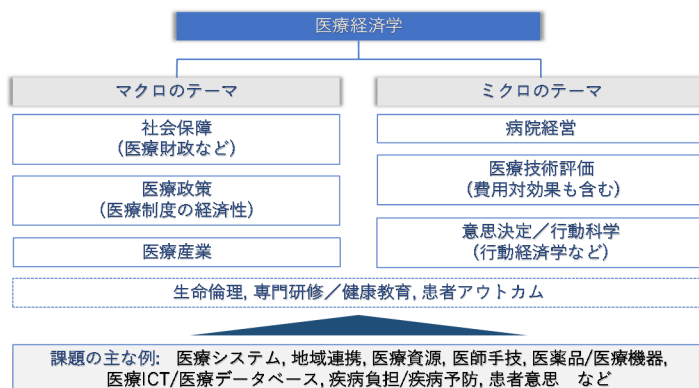


図 1 . 医療経済学の概念とテーマ

### コンジョイント分析の概念

コンジョイント分析は、あるサービスに対する支払意思額(対価、価値)を推計する手法の一つであり、多様な要因を取り扱いつつ、代表値(母集団のコンセンサス)を算出することが可能である

コンジョイント分析でなにができるのか？

- ✓ 複数の要因間で(条件比較をして)いずれの要因が重視されているのかを視覚的に相対化して明瞭に表現できる
- ✓ 名義尺度や順序尺度など異なる尺度が混在してもかまわない

国民の互助・共助の精神に基づき

ある医療サービス → 複数の影響要因 (臨床効果, 患者負担, ...) → 負担者の総意・判断 → 統合 → 負担額: ...円/件

(画像出典) 成育医療センター-NCU

図 2 . 支払意思額調査 (コンジョイント分析) の概念

### 生育医療における効用値の測定と経済価値の算出

本研究班における研究課題として、以下の2つのテーマが考えられる

**研究テーマの例**

- 関係者による効用値の測定手法の検討: Qaly算定の基礎データ収集ツールである、ユーロQOL (EQ-5D) の測定方法の研究  
⇒ 小児からの直接的なデータ収集に限界があるので、代理回答(家族、医療職など)の手法の確立を標榜した研究
- 国民による経済価値の測定手法の検討: Qaly値の経済的な解釈の基礎となる支払意思額(WTP)の水準値の調査・研究  
⇒ 小児医療を支える経済基盤は国民の互助や理解によるため、小児医療に対する国民の経済的価値を分析する研究

(注1) 小児の効用値を直接観察する手法の研究もあり、代理回答の方法論の発展と併せて本領域の進展が望まれる (EQ-5Dは小児へは適用外)  
(注2) 支払意思額の研究は、本邦で臨床家から十分な理解を得ていない可能性もあり、Qalyの経済基準はその他にGDP比なども応用されている

図 3 . 小児慢性疾患領域の価値評価の主な検討課題例