

## 連載

## 臨床経済学の基礎(6)

筑波大学大学院人間総合科学研究科 ヒューマン・ケア科学専攻  
保健医療政策学分野 教授 (社会医学系)

大久保一郎

今回は効果の種類について解説することとする。費用効果分析についてはしばしば誤解されることがある。それはある医学的介入に対して効果があるか否かを検証するものと思われることである。ここであらためて強調するが、効能や効果があるか否かではなく、効率的であるか否かを検証するものである。つまり分析対象は効能や効果が既に証明されているものに限るのである。効果がないものに対してその費用を計算する意味はなく、また効果が論争中のものはその決着がついた後に実施すべきである。もちろん新規の医療技術の効果を測定する際には同時に費用も測定する場合があるが、その時効果が検出されなければ費用効果分析を行なう必要はない。

臨床経済学は効果（成果）と費用の両者を測定するが、研究対象の効果の測定や評価は極めて重要であり、費用のそれより神経を使うこととなる。ある著名な日本の医療経済学者の発言の中で、非常に強い印象に残る言葉がある。それは「費用の計算は間違えても一桁であるが、効果は二桁、三桁である。」というものである。表現は少し大げさであるとは思いますが、事実を端的に表していると思う。読者の多くは保健医療分野の研究者や実務者で費用計算には不慣れであり、臨床経済学の「経済」という響きから、自身にはできないもの、他の世界のものとして敬遠する傾向にある。しかし、上記の言葉からも、効果や成果の正確な評価は費用のそれより重要なものであり、この効果の評価は読者の正しく得意とするものである。私自身効果の測定が適切にできれば、研究の7割以上は終わったという感覚を持つ。またいくら費用計算を緻密に行なっても、効果の測定が正しい加減、不適切であると、その研究の価値は大きく低下することとなる。この観点から、是非一人

## 効果の主な指標

- 
- 1, QALY (Quality Adjusted Life Years) : 質を補正した YOLS
  - 2, YOLS (Years of Life Saved) : 延長された平均余命
  - 3, 救われる人命数
  - 4, 発見される症例数, 治療される症例数
  - 5, 中間的效果 (たとえば, 改善される血糖値, 酸素飽和度など)
- 

でも多くの読者に臨床経済学を身近な学問として感じて、本分野に積極的に参入して来て欲しい。

効果の種類を表で示す。この表の下から、中間的效果, 発見される症例数, 救われる人命数, YOLS, QALY である。効果の種類分類には他のものもあるが、効果の質のレベルを知る上で、この分類は便利であり、私はよく使用している。結論から述べると、上に位置づけられているものほど、効果の指標としては望ましく、理想的には QALY がベストである。これらの効果の指標は上へ行くほど最終的な成果 (outcome) に近づくからである。以下、それぞれについて解説する。

## 1. 中間的效果

これは高圧剤であれば、飲まなかった場合、または比較対象薬と比較して、〇〇 mmHg 低下したかを測定するものである。また抗がん剤であれば腫瘍の大きさが〇%縮小したかである。通常新薬の治験で実施されるものであり、もし、費用が同じであれば当然この数値が大きい程優れたものと評価される。もし、費用が異なるのであれば、費用効果比として血圧を 1 mmHg 低下させるのに〇円として示される。この効果指標は極一般的であり、理解をしやすいものである。

しかし、この効果の指標が「中間的」であり、この表の中では最低のランクであるのはなぜであろうか。それは降圧剤や抗がん剤の本来の目的は、前者であれば脳血管障害の発症等を抑え、死亡を避けることである。後者であればそのがんによる死亡を抑え、がんがない人と同じ余命を享受させてあげることである。つまり、血圧の低下度やがんの縮小率はこれらのより高次の目的を達成するための通過点であり、その論理はこれらの指標を測定することで、間接的により高次の目的が達成できるものと考えているからである。例えば降圧剤であれば、血圧の低下→脳血管障害の罹患の減少→死亡率の減少→寿命の延長という一連の流れが想定でき、血圧の低下は最も下流にある。落語に「風が吹けば桶屋が儲かる」という話があるが、当然と想定できるシナリオも少しずつずれてくると、最初と最後で予想もしないような結果となり、真実と大きく乖離する場合がある。降圧剤の場合をこのような極端な例に当てはめることは不適切かもしれないが、血圧が低下しても他の疾患が発症して、その人の余命を短縮させるかもしれない。また逆に血圧が上がっても血管を強くして、結果的に脳出血を抑えるかも知れない。抗がん剤であれば、がんが縮小してもその人の余命を伸ばしていると感じられない、むしろ縮めているのではと思われる場合がある。このような意味でこれら中間的評価の指標は、本来はより高次の効果の指標を直接測定すべきではあるものの、その時間や予算的な制約等から、高い頻度で使用されているが、その解釈には十分留意をする必要がある。

## 2. 発見される患者数、診断される症例数、治療される患者数

この指標は診断機器や健診（検診）の評価として、頻繁に使用される。例えば、ある部位のがん検診において、その方法に複数の選択肢があったとする。その中で最も効果が高いものを選択しようとした場合、検査対象人数をそろえて、それぞれの検査方法で何人のがんを発見できるかで評価することができる。この場合1人でも多くのがん患者を発見できる方法が優れていることとなる。費用効果比ではがん患者1人発見するのに〇円として評価される。検診という目的から最も考えや

すい効果の指標であり、よく理解できると思う。

しかし、これも最もよい効果の指標であるかは疑問である。多くのがんを発見できても、そのがんが進行期で、治療をその時点から開始しても治療しない、または予後に影響がないのであれば、発見してもあまり意味がないであろう。むしろ、予後（この場合余命に影響がないとする）が同じであれば、早期に死の宣告をされたことになり、その人は将来を悲観することによりQOLが低下し、発見されなかった人より不幸となるかもしれない（逆に予後に変化がなくても、早期にホスピス・ケアや、傷みのコントロールが受けられるという、QOLの改善が図られるのであれば、それは幸せである）。一方、発見数は少なくともその患者は早期の治療により予後の改善が見込めるのであれば、その方がよいであろう。この場合、単にがん患者の発見数ではなく、がんのステージの早期の患者の発見数で評価することによりこの問題の一部は解決できる。

## 3. 救命数、回避された死亡数

医学的介入の共通の目的は人の命を救うこと、つまり死亡の回避である。これを否定する人はいないであろう。そして、効果の普遍的な指標として、異なる複数の医学的介入間で比較する際にも利用できる。時にはがん検診とシートベルトの着用といった、保健医療政策の範囲外の対策とも比較できる。費用効果比として表すと、1人の命を救うのに、または1人の死亡を回避するのに〇円となる。これもわかりやすい指標である。ただし、あまりにもわかりやすいので、人の命の値段を測定するような不快を感じるかも知れない。例えば、比較すべき2つの医学的介入があって、一つはこの値が10万円、もう一方が1億円であったとする。前者が効率的には優れているが、後者は実施する価値はないのか。そうであれば、人の命は1億円より低いのかといった議論が生じるかも知れない。

またこの指標の欠点は、死亡を回避できたとしてもその予後に関して何も評価していない点である。例えば、回避された死亡数が同じであっても、一方は治療により完治でき、健康な人と同じ余命を享受できるが、もう一方は生命は取り留めたものの、再発する可能性が高く、健康な人の半

分しか余命が期待できないとする。この場合前者の方が優れているが、この指標ではこの差を表すことができない。

さらに異なる議論として、例えば費用も救命数も同じ2つの保健医療対策があったとする。どちらも費用効果比は同じであり、優劣は付けられない。しかし、この2つは対象とする集団が全く異なり、一つは新生児をもう一方は高齢者であった。予算は限られていて、どちらか一方を選択しなければならない。この場合、この指標では答えは出せない。この状態であえて判断を行なうとすると、新生児の命と高齢者の命はどちらが重要かといった倫理的な課題に直面する。誰でもこの種の課題を正面から取り扱いたいと思う人はいないであろうし、そもそも比較すること自体が問題であると感じるであろう。でもどうしても扱わざるを得ない立場であったら、どうするか。私ならそのことが最初から予想されるのであれば、倫理面での議論を避けるために、そもそも救命数を効果の使用としないであろう。次に述べるYOLS(余命の延長)を指標とするであろう。

#### 4. 余命の延長 (YOLS: Years of Life Saved)

効果の指標として、上記の死亡を回避させることを採用することは誰でも理解しやすいが、余命を延長させることも誰もが同意するであろう。これをYears of Life Saved (YOLS)という。または、Years of Life gainとも言う。余命を1年伸ばすプログラムとそれを2年伸ばすものでは、当然後者の方が優れているであろう。費用効果比では余命を1年伸ばすのに○円と表現される。

上記3の例における、高齢者と新生児の救命数が同じである2つのプログラムでは、このYOLSを指標にして比較することができる。例えば、前者は高齢者10名、後者は新生児10名の死亡を回避できるとする。それぞれの余命が10年と80年であれば、YOLSでは100、800人年となる。単純にこの数値を比較すれば後者の方が優れたプログラムとなる。

この指標も普遍的なものなので、上記の回避された死亡数と同様に、全く異なる医学的介入間での比較や、保健医療以外の対策との比較が可能となる。

この指標の欠点は延長された余命の質 (QOL)

が評価されていないことである。上記の例で言えば、高齢者は健康な者と同じ生活をおくることができ、一方新生児は生涯寝たきりであったとする。YOLSでは差が出たが、このQOLを考慮するとどちらが優れているかは即答できない。この場合、効果の指標として、次に述べるQALY (Quality Adjusted Life Years)を使用するとよい。

#### 5. 質調整余命の延長 (QALY: Quality Adjusted Life Years)

これは上記のYOLSの概念にQOLの概念を加味したものであり、YOLSという量の評価に、QOLという質の評価を同時に行なったものである。これにより同じ1YOLSであっても、健康な状態での1年と寝たきりでの1年では、前者の方が優れているということは直感的に理解できるが、これを数量で示すことができる。

数式では $QALY = YOLS \times i (0 \leq i \leq 1)$ で示され、完全に健康な状態であれば $i=1$ 、死んでいる状態であれば $i=0$ である。すべての健康状態はこの0から1の間にある(この $i$ の測定方法は次回以降解説する)。この指標はYOLSと $i$ の2つに因子の積により規定されるので、比較すべき2つの治療法があって、一方が余命でもQOLでも他方に優るのであれば判断は容易であるが、一方が余命では優るがQOLでは劣るような場合は、このQALYを計算することで結論を出すことができる。例えば、治療法AとBがあって、Aは余命を2年延長させるが、健康状態としてはかなりの生活上の制限を受ける。一方Bは1年の余命延長であるが、健康な人とほぼ同じ生活を送ることができるとする。どちらが優っているかを判断するときには、QOLである $i$ を測定して、その結果Aが0.4でBが0.9であれば、それぞれQALYは0.8、0.9となり、Bが優ることとなる。

このQALYは効果の指標としては最高のレベルにあり、これを結果(成果)としたものを、CEAの一類型と考えるが、特別にCUA (Cost Utility Analysis: 費用効用分析)と呼んでいる。費用効用比として、1QALYを獲得するのに○円と表される。この1QALYとは完全な健康状態での1年に相当するので、別の表現をすると「完全な健康な状態で1年余命を延長させるのに○円か

かる。」である。健康日本21が目指すものは健康寿命の延伸せあり、いわばこのQALYで測定することを示唆している。そしてQALYは効果の指標として普遍的であるので、全く異なるプログラム間、保健医療分野以外の対策間での比較が可能である。また1QALY当たりいくら以下であればそのプログラムは実施する意味があり、またいくら以上であればあきらめた方がよいといった、判断の閾値のようなものが存在している。これはもちろん絶対的なものではないが、一応の物差しがある。

なお、QALYの最大の難点はQOL、つまりiの測定が容易でないことである。しかし、余命の

延長より生活の質、QOLの向上を目的とした医学的介入では、この指標での分析は必須である。例えば、慢性関節リウマチの新薬で症状の改善を目的としたものでは、YOLSと同時に患者のQOLの測定は必須である。なお、ここで注意願いたいのは、リウマチに特異的なQOLのスコアが存在していると思うが、QALYではこれを使用してはいけない。リウマチ以外の多くの疾患でもQOLの測定がされるが、その多くは疾患特異的なスコアであり、その疾患同士のQOLの優劣は測定できるが、当然ながら他の疾患での比較はできない。QALYで使用するiの測定は、すべての疾患で共通に測定できる普遍的なものである。