

ビッグデータと価値に見合った医療

蓋 若 瑛*

抄 録

近年、価値に見合った医療（value-based health care）の考え方が世界的に注目されている。この概念では、患者の健康アウトカムを最大化し、医療費を最適化することが重視されており、患者の視点を中心に据えたアプローチが提唱されている。一方で、保健医療分野におけるビッグデータや機械学習、人工知能の進展は、この価値に見合った医療の実現に向けて重要な役割を果たすと期待されている。本論文は、このビッグデータが価値に見合った医療を推進するための可能性と課題について先行研究をレビューし、患者報告アウトカムの臨床試験や臨床診療への応用、ビッグデータ化と社会的実装、医療経済評価の精確化などの課題を議論した。日本の医療制度が直面する医療の質と効率性を向上させるための対策の一助となる。

キーワード：価値に見合った医療（value-based healthcare）、ビッグデータ、患者報告アウトカム（PRO）、医療経済評価、データサイエンス

社会保障研究 2024, vol.9, no.1, pp.66-77.

I はじめに

近年、価値に見合った医療（value-based healthcare）の考え方が世界で広がっている。Porter et al. (2006) は医療の価値を「患者の立場から見た望ましい健康アウトカムと満足度を最大化しつつ、医療費を最適化すること」と定義した。価値に見合った医療は、患者のアウトカムに焦点を当て、すべての利用可能な医療資源が個人及び集団の健康アウトカムの最大化を実現することによって達成される〔Porter et al. (2006); Porter (2010)〕。その概念が提起された背景は、医療の

価値の多様化と医療の持続可能性にある。従来、臨床的実践における治療方法の選択にかかわる意思決定は医師に主導されていたものの、疾病構造の変化や医療技術の進歩によって、臨床的指標を最大に改善する選択肢は必ずしも患者が最も望ましい選択肢に限らなくなっている。また、医療費の高騰の課題は多くの国や地域で深刻になっている中、患者の意見を臨床的および保健医療政策の意思決定に十分に反映し患者の健康アウトカムと満足度を高めつつ、効率的な医療プロセスや予防的なアプローチを通じて限られた医療資源を効率的に活用するによって、医療の価値を最大化する患者中心的なアプローチが提唱された〔Berwick

* 長崎大学グローバル連携機構 教授

et al. (2008)]。この影響を受けて、患者の視点が臨床医療においてますます重要視されている。医療プロセスにかかわる意思決定において患者を参加させてその意見を十分に反映し、患者報告アウトカム（PRO: patient-reported outcomes）が臨床診療と臨床試験における利用が拡大されて、臨床的意思決定、保健医療政策の意思決定の重要な指針となっている〔Baumhauer et al. (2016)〕。

最近急速に進展した保健医療分野のビッグデータおよび機械学習や人工知能の応用は、価値に見合った医療の推進における重要な役割を期待されている。具体的には、患者の視点に基づいたデータと情報から精密な洞察を得て、個々の患者の特性やニーズに合わせた個別化された診療を行うことは、疾患の早期発見や予防、健康アウトカムの向上、合併症の回避による医療費の削減や健康アウトカムの向上があげられる。ビッグデータ、機械学習や人工知能の保健医療分野への導入を推進しているのは、世界各国で広がったデータ駆動型医療改善に向けた戦略の構築である。日本国内では、医療情報のデジタル化、電子カルテの普及、ビッグデータ解析と活用、機械学習と人工知能による診断支援、治療計画の最適化と予防医療の実現などのデータ駆動型医療改善の戦略を推進し、より効率的で質の高い医療サービスの改善が期待される。

本稿は上述の背景を基にして、ビッグデータが価値に見合った医療を推進する道筋と課題について先行研究をレビューした上、患者の視点からビッグデータをはじめとする医療情報技術の進化および政策の動向が医療分野に与える影響を展望する。次の第II節では、価値に見合った医療に欠かせない患者報告アウトカムの測量と臨床試験、臨床診療への応用における課題を述べる。第III節では、昨今の世界で広がった患者報告アウトカムのビッグデータ化における動向をレビューして、患者報告アウトカムのビッグデータ化と利用拡大の推進における課題を考察する。第IV節ではビッグデータの資源配分にかかわる意思決定を支える医療経済評価に与えた影響を考察する。最後に、第V節ではビッグデータの活用による価値に見

合った医療を実現するための道筋を展望する。

II 患者報告アウトカムの臨床試験、臨床診療への応用

1 患者報告アウトカムの概要

患者報告アウトカムとは、患者が自身の健康状態や治療効果を主観的に評価するための指標である。米国食品医薬品局（FDA: Food and Drug Administration）による定義は「臨床家その他のだれの解釈も介せず、患者から直接得られた、患者の健康状態に関するあらゆる報告」と訳された〔FDA (2009), 下妻訳〕。初期の医学研究では、主に生存率、生存期間の延長、重症度や生理学的な指標が評価の主軸であった。一方で、医師と患者の認識の乖離がしばしばあって、臨床的指標を最大に改善する選択肢は必ずしも患者が最も望ましい選択肢に限らないため、患者の感じる痛みや生活の質の面の医療の価値にかかわる情報は、客観的な医学的指標だけでは把握できない。特定の治療が生存期間を延ばしても、患者の心理面、社会面への配慮が欠如し生活の質を低下させることは近年、問題視されている〔Temel et al. (2010); Zimmermann et al. (2014)〕。

患者の生活の質、患者満足度、自らの状態や治療に対する主観的な感受性や経験、日常生活における機能制限と心理的な側面、治療へのアドヒアランスなどの要素への関心が高まっている中で、患者報告アウトカムの重要性は認識され、臨床治療と臨床試験の効果評価における利用も拡大しつつある。米国FDAは患者の視点を医療品開発にかかわる審査に取り入れて患者報告アウトカム指標評価に関するガイダンスを発表した〔FDA (2009)〕。経済協力開発機構（OECD: Organization for Economic Cooperation and Development）もヘルスシステムのパフォーマンス評価における患者報告アウトカムの利用とデータ収集の重要性を強調した〔OECD (2017)〕。日本国内では患者報告アウトカム使用のためのガイダンスが厚生労働省科学研究班の成果として出版され、臨床試験および臨床現場における患者報告アウトカムの利用推

進に資している〔厚生労働省科学研究班 (2022)〕。最近の10数年間は臨床試験における患者報告アウトカムの導入は顕著に増加し、その要因は臨床医療の専門学会や関連の規制機関による推奨と患者団体によるアドボカシーと考えられる〔Kluetz et al. (2018); Merciacca-Bebber et al. (2018)〕。患者報告アウトカムのデータは臨床研究、臨床および政策立案にかかわる意思決定への情報提供、長期的転帰の予測、さらに医療技術評価にも応用され、医療の質とアウトカムの向上、患者中心で個別化された治療の推進に寄与している。患者の視点に基づいた質の高いデータ収集は、価値に見合った医療において不可欠な要素となっている〔Baumhauer et al. (2016)〕。

2 患者報告アウトカム尺度

患者報告アウトカム尺度 (PROMs: Patient-Reported Outcome Measures) は症状、健康関連生活の質 (HRQOL)、機能的状態などの健康関連アウトカムに関する情報を患者から収集する標準化された質問票であり、大まかに疾患特異的尺度 (disease-specific measures) と一般的尺度 (generic measures) がある〔Churruca et al. (2021)〕。前者は特定の疾患や健康状態に焦点を当てたアウトカムを評価するための尺度であり、さまざまな疾患への臨床的な応用が広がっている。その例として、欧州がん研究機構によって開発されたがん患者の生活の質 (QOL: Quality of Life) を評価するために広く使用されている EORTC QLQ-C30、また心不全患者の QOL を評価するために広く使用されている Minnesota Living with Heart Failure Questionnaire (MLHFQ) などがあげられる〔Aaronson et al. (1993); Rector et al. (1992)〕。それに対して、後者はさまざまな健康状態や疾患に適用できる健康アウトカムを評価するためのものであり、代表例として SF-36、WHOQOL-BREF、EQ-5D など健康関連アウトカムを身体、精神、社会などの多次元的な側面を評価して世界範囲で広く使用される尺度がある〔Ware et al. (1992); the WHOQOL Group (1998); EuroQol Group (1990)〕。両者の特徴について、前者は特定の疾患に関連す

る健康状態や症状を詳細に評価することによって、特定の治療効果や介入の影響を正確に把握できる。一方で、一般的尺度は幅広い疾患や人口集団に適用できて比較が容易にできる。

価値に見合った医療の一環として、患者報告アウトカム尺度は意思決定を支える医療経済評価にも重要な役割を果たしている。健康関連生活の質の評価のほかに、費用対効果分析、患者中心のアプローチを促進する保健医療政策や介入のデザイン、医薬品・医療サービスの市場価値の評価、治療法の選択や保健医療資源の効率的な配分にかかわる意思決定にも幅広く応用されている〔Le Corroller et al. (2023)〕。ここで患者報告アウトカム尺度の例として EQ-5D を紹介する。EQ-5D は EuroQol グループが開発した健康関連生活の質を測定するための代表的な一般的尺度の一つであり、その質問票には、患者の健康状態を評価する移動 (Mobility)、セルフケア (Self-care)、日常活動 (Usual activities)、痛み・不快感 (Pain / Discomfort)、不安・うつ (Anxiety/Depression) という5つの次元を含み、各次元は3つ (EQ-5D-3L) もしくは5つのレベル (EQ-5D-5L) で評価される。EQ-5D は多様な疾患、健康状態の評価に応用され、異なる疾患、人口集団の間の比較も可能である。具体的には、患者が各次元で回答したレベルに割り当てられた重みを使用して各健康状態を数値化したスコアを利用して、疾患や治療の各段階の健康状態を評価するのである。各次元・レベルの重みはタリフともいい、特定の国や地域の人口集団の選択的嗜好に基づいて異なる健康状態 (健康状態の合計数は、EQ-5D-3L の場合は $3^5 = 243$ 通、EQ-5D-5L の場合は $5^5 = 3125$ 通である) を重み付けることにより、各健康状態に対する重要度を考慮した数値を得られるものである。タリフに基づいて算出した EQ-5D スコアは、疾患や介入によって改善、もしくは悪化した質調整生存年 (QALY: Quality Adjusted Life Years) を算出できる。したがって、EQ-5D は医療経済評価の重要なツールとして、治療を含む保健医療介入の効果および費用対効果の定量化評価によく利用され、資源配分における比較優位性を考察するための比較

も容易になった〔Nixon et al. (2003)〕。また、これまで医療経済評価に直接使用できなかった疾患特異的尺度をEQ-5Dなどの医療経済評価向けの一般の尺度と結び付けて当該疾患の医療経済評価に応用するMappingの手法も最近広がり、従来の疾患特異的尺度の利用範囲を拡大し、さまざまな疾患における医療経済評価の実践を促進している〔Luo et al. (2019)〕。

3 臨床試験および臨床診療への応用の課題

患者報告アウトカムは介入の有効性や安全性を評価するための重要な指標として、これまでランダム化対照試験を含む臨床試験の一部として実施されることが多く見られている〔Calvert et al. (2013)〕。臨床診療においても患者の健康状態や治療の効果の定量化評価の有用なツールとなっている〔Snyder et al. (2016)〕。一方で、患者報告アウトカムの臨床試験および臨床診療への応用には、いくつかの重要な課題がある。一つはデータの質である。患者報告アウトカムは主観的な評価なため、情報の収集や解釈にバイアスが生じるリスクがある〔Snyder et al. (2016)〕。また、Bell et al. (2018) は患者報告アウトカムの欠損データが臨床試験の結果に大きな影響を与える可能性があるため、適切な取り扱い方法の重要性を示唆した。患者報告アウトカムの信頼性と一貫性を確保するためには、適切な尺度とデータ収集プロセスが必要である。もう一つは適切な尺度の選択の課題であり、疾患の特性、評価の目的、患者の文化的背景、測定尺度の感度や信頼性などの要素の考慮が不可欠である〔Basch (2018); Jones et al. (2016)〕。データの効率的な収集も大きな課題である。患者報告アウトカムのデータは質問票を使用して収集するため、患者や医療従事者によるデータ収集と入力に時間がかかってリアルタイムの収集が難しい。さらに、異なる患者グループや異なる疾患状態を比較するためには、異なる尺度間でのデータの統合と比較が必要である一方で、異なる研究デザインやデータ収集方法が使用されたため異なる尺度間でのデータの統合は複雑であり、一貫性や比較可能性が損なわれる可能性があ

る〔Bianchim et al. (2023)〕。こうして、ますます増大する臨床試験および臨床診療への応用に向けて、研究デザイン、多様な尺度の選択、多様なデータ収集方法の選択、解析方法、データの解釈と利用、患者と医療従事者のコミュニケーションの改善や治療効果の評価への応用にかかわる標準化されたガイドラインの開発と更新によってデータの品質や信頼性を向上することが求められる〔Sutherland et al. (2021); Snyder et al. (2016)〕。

上記の問題点を克服するために、近年、患者報告アウトカムの利用と報告の標準化されたガイドラインが開発された。その代表的なものには、臨床試験の報告に関するCONSORT (Consolidated Standards of Reporting Trials)、臨床試験プロトコルの報告に関するSPIRIT (Standard Protocol Items: Recommendations for Interventional Trials)、国際QOL研究機構 (ISOQOL: International Society for Quality of Life Research)が開発した患者報告アウトカムを報告するためのガイドライン、欧州医薬品庁 (EMA: European Medicines Agency)が開発したガイドラインがある〔Calvert et al. (2013); Calvert et al. (2018); Snyder et al. (2016); EMA (2016)〕。CONSORTとSPIRITは臨床試験結果の透明性を確保するために開発されたものである。ISOQOLのガイドラインはより具体的な患者報告アウトカムの報告方法に焦点を当てていることに対し、EMAはヨーロッパの医薬品規制機関のため、医薬品開発のための臨床試験の品質向上と医薬品の承認プロセスの改善に着目したものである。これらのガイドラインによって、患者報告アウトカムの報告の標準化と獲得するデータの品質と信頼性の向上が期待できる。

III 患者報告アウトカムのビッグデータ化と社会的実装

1 患者報告アウトカムのビッグデータ化の動向

昨今のデジタルヘルステクノロジーの進歩とともに、患者報告アウトカムはビッグデータ化している。患者報告アウトカムのビッグデータ化には

二つの動向がある。一つは電子機器やモバイルアプリを利用した患者報告アウトカムデータの大規模でリアルタイムな収集が可能になったことであり、もう一つは大規模な患者報告アウトカムデータを人工知能や機械学習などの高度な手法を用いる解析と医療の個別化への支援である。ビッグデータアプローチの患者報告アウトカムデータの大規模でリアルタイムな収集と複雑系データの解析への促進における有用性は先行研究で示唆され、データの品質と信頼性の向上、効率の良い収集と複雑系データの解析の促進における役割を果たしている〔Sloan et al. (2016); Eriksen et al. (2020)〕。こうしたビッグデータ化の動向は、前述した臨床試験および臨床診療への応用における課題の解決の一助となる。

一つ目の動向の代表例は、モバイルヘルスアプリの活用、電子機器を経由した患者報告アウトカムのデータ収集や電子健康記録、電子カルテ、レセプトデータとの連結を通して、患者の視点に基づいたデータと情報を効率よく幅広く収集・解析することであり、最近、電子機器を用いた患者報告アウトカムの収集 (ePRO: electronic PRO) が国内外で急速に拡大している。ePROは従来の紙ベースのアンケートやインタビューに比べて、データの収集や分析の効率性を向上させるだけでなく、患者の利便性も高めることが期待される。Calvert et al. (2015) は患者報告アウトカムのICT化の課題を提起し、データ収集の多様さと迅速さ、大規模なデータセットから得た正確なパターンや関連性の抽出、患者と医療従事者のコミュニケーションなどのビッグデータアプローチの潜在的なメリットを挙げた。患者報告アウトカムが電子カルテ、モバイルアプリ、電子化された病院情報システムと連結して臨床診療に応用することは、治療効果、患者の生活の質の向上につながると実証されている。例えば、Maguire et al. (2021) はランダム対照試験を実施して、遠隔症状モニタリングシステムが化学療法を受けたがん患者の症状管理における有用性を示した。システムを利用した患者は、より早い症状の発見や適切な介入が可能であり、治療の副作用に対処するための支援

が向上し、患者の生活の質や心理の面にもよい影響があった。Ruland et al. (2010) の介入研究では、コンピュータ支援型のインタラクティブな患者アセスメントツールが、患者のケアや症状管理支援のニーズに与える影響が評価された。

患者報告アウトカムのビッグデータ化にかかわる国内の取組みは、電子カルテを含む患者の健康情報や診療記録のデジタル化、健康アプリの利用に基づいたリアルタイムのePROデータ収集、臨床試験における活用、医療機関の電子カルテをはじめとする医療情報システムとの連結などがあげられる。中島らの厚生労働科学研究班 (2022) はePROと電子カルテの臨床情報を連結したがん治療モニタリングシステムを構築してがん治療にフォーカスした患者報告アウトカムを臨床に実装する基盤を整えた研究成果に基づいて、日本の医療制度や文化に適した患者報告アウトカムのICT化と社会的実装の方向性と課題を示した。ePROと電子カルテの連携による症状管理モニタリングシステムの構築について、国内で関連の介入研究はまだないが、ePROと電子カルテ連携にかかわるパイロット研究や実例研究に基づいた報告が散見される〔嶋田 (2020); 堀江 (2021); 平山他 (2022)〕。

2 人工知能や機械学習によるPROデータの解析と個別化医療への支援

もう一つの動向は大規模に収集された患者報告アウトカムデータセットの解析にあり、そこに人工知能や機械学習、深層学習などの高度な手法の活用が不可欠である。機械学習アルゴリズムは、患者報告アウトカムデータセット内のパターンを認識し、異なるカテゴリに分類することによって、特定の疾患に関連する症状パターンや傾向を抽出すること、類似した患者群をクラスタリングして異なる亜群の特性や治療応答を特定すること、患者や治療グループの異常なパターンや傾向を特定することができる。これにより、個別化された治療計画や介入の開発が可能となる。また、将来のイベントや結果を予測するモデルを構築することにより、特定の治療法の効果や患者の予後

を推定することも可能となる。その応用例として、Rajkomar et al. (2018) は電子健康記録を用いた深層学習手法により、患者の予後の予測やリスク評価を行った。Goldstein et al. (2016) は患者報告アウトカムデータを含む多様なデータソースを用いて、心血管リスクを予測するための機械学習アルゴリズムを開発した。さらに、患者報告アウトカムをAI健康技術に組み込むことによって、より効果的な治療と個別化された医療が可能となる [Rivera et al. (2023); Pearce et al. (2023)]。患者報告アウトカムデータを活用した人工知能、機械学習・深度学习手法の開発や応用に関する研究の増加はこの新たな領域に重要な知見を提供している。

3 患者報告アウトカムのビッグデータ化に向ける課題

このような患者報告アウトカムにかかわるビッグデータの大規模な解析と応用が大いに期待されているにもかかわらず、患者報告アウトカムのビッグデータ化とともにいくつかの課題が顕在化している [Rivera et al. (2023); Pearce et al. (2023); MacLean et al. (2023)]。一つ目はガイドラインや関連規制の整備である。従来のデータ収集の断片化とデータの質にかかわる一貫性、正確性と整合性という固有の課題の上、ビッグデータ化とともに異なる尺度および臨床的データの連結が不可欠なため、ガイドラインの標準化されたデータ収集プロセスと解析技術をアップデートする必要がある。また、ビッグデータ化とともに患者のプライバシーの確保とデータセキュリティの保護が特に懸念となり、ガイドラインや関連規制の整備は急務である。ビッグデータは通常高次元で複雑な構造を持っていて、人工知能、機械学習・深度学习のような高度な手法による解析においても大きな課題が残っている。二つ目は医療従事者および患者のビッグデータおよび高度な解析アプローチに対する理解度の向上にかかわる活用環境の整備である。実際の臨床環境におけるデータ収集、モデルの実装、結果の解釈と応用など一連の診療プロセスでは、患者や医療従事者がモデ

ルの予測にかかわる知識と理解、解析モデルの透明性と解釈可能性が不可欠である。三つ目は関連インフラ整備に伴う医療機関の負担とその対策に対する検討である。患者報告アウトカムを含むビッグデータの社会的実装に伴って、臨床情報にかかわるビッグデータの収集と管理、電子化健康記録、病院情報システムの構築とアップデートには大きな費用が必要なため、医療現場への負担に対する懸念が提起されている。一方で、このようなビッグデータアプローチは医療機関の財務的健全性と臨床の質の向上につながったことを示唆した海外の実証研究があった [Modi et al. (2024)]。ただ、保健医療制度の文脈が異なって海外のエビデンスは必ずしも国内に適用しないため、社会的実装に向けて医療機関への負担と診療報酬を含む政策的な仕組みの検討が必要となる。

IV ビッグデータと意思決定を支える医療経済的エビデンスの精確化

1 既存の医療経済評価手法の限界

医療介入がもたらす効果を費用に対してどれだけの価値があるかという医療経済評価は、資源配分にかかわる意思決定に欠かせない要素であり、価値に見合った医療の一環となっている。医療経済評価で行われる費用対効果分析は、特定の医療介入や治療法にかかる費用と効果を比較し、その介入が資源の最適な利用であるかどうかを評価する手法である。費用対効果分析の費用指標は一般的に投資した財源やリソースの金銭的な価値であり、効果指標として世界範囲で最も幅広く応用されるのは、前述のEQ-5Dを使用して推定された質調整生存年という効用指標である。患者報告アウトカムの尺度はさまざまな医療経済評価に応用され、健康アウトカムの推定に不可欠である [Le Corroller et al. (2023)]。異なる疾患や保健医療介入の費用対効果は、ある期間中の対象疾患にかかわる健康状態の変化・転帰が経過した結果、比較対象の介入によってそれぞれ発生された費用と改善（もしくは悪化）された効果を（費用B－費用A） / （効用B－効用A）の形となる介入Bが介入A

と比べた増分費用対効果比、いわゆる比較優位性を示す数値を算出して比べるものである。

費用対効果分析に必要な健康状態の変化・転帰は、臨床試験やコホート研究で収集された患者データ、マルコフモデルや生存分析などのモデリング手法、もしくは過去の研究成果や文献からの情報を網羅して推定するのが一般的であり、推定の精確さはデータと情報の質と入手可能性によって左右される〔Gold et al. (1996)〕。上記の手法に基づいた従来の医療経済評価はいくつかの限界がある〔Bojke et al. (2009); Claxton (2008)〕。一つは医療経済的アウトカムの測定に必要なデータがしばしば足りないことである。臨床試験やコホート研究でも、マルコフモデルや生存分析モデルを築くためのエビデンス統合の源である既存の研究でも、限られた規模および研究期間で実施されることが一般的である。長期間や大規模なコホートを対象とすることが難しく、異なる研究や人口集団の間に介入効果の測定方法やタイミングによって結果が異なるケースがよくあり、推定に必要なパラメータの不確実性を生じる一因となる。患者報告アウトカムデータや医療記録、カルテの不完全な記録・欠損より、データの質や信頼性が懸念されることがある。もう一つの限界はモデリング手法にある。マルコフモデルをはじめとするモデルは、既存のエビデンスや知見に基づいた仮定によって対象である健康状態の変化・転帰・予後にかかわるパスウェーを単純化するのが一般的であり、実際の複雑な現実を十分に反映することが難しく、大きな不確実性の源となる。モデルの仮定やパラメータの選択と内容によって、推定の結果が大きく変わる。また、医療経済評価は医療技術の進歩や患者にかかわる疫学、社会人口学的特性の変化など将来の状況やイベントを予測する必要があるため、これまでのモデリング手法による対応が難しい。こういった限界はこれまでの医療経済評価におけるさまざまな不確実性を生じるものであり、質の高いデータを網羅し、リアルワールドの複雑な関係性とパラメータを全面的に反映する精確な評価方法が必要となる。

2 医療経済評価における人工知能、機械学習の活用

人工知能や機械学習・深層学習アルゴリズムは、従来とらえきれなかった複雑な関係性とパラメータを精密に評価できる。大規模かつ複雑なデータからパターンや関係性を発見し、健康状態の変化・転帰・予後を含む臨床的健康アウトカム、医療サービスの利用、健康関連の行動変容、医療費など費用対効果分析に必要な関連パラメータを全面的にとらえる能力に優れている〔Lee et al. (2022); Lee et al. (2023)〕。

このような大規模なデータの応用と解析能力に基づいて、医療経済評価のためのモデル開発と改善のほかに、最適な治療戦略と個別化された診療の実現、効率的な医療資源の配分、リスク管理と予防医療にかかわる意思決定を力強く支えている〔Whicher et al. (2022); Leung, van Merode (2018)〕。Rose (2018) は機械学習アルゴリズムを用いて、医療費と医療条件の関連性を分析し、医療費の変動要因を特定するための有用な手法を提供して、そのエビデンスは医療費最適化にかかわる意思決定の一助となる。ビッグデータの分析を通して、高リスクおよび高コストな患者を正確に特定することが可能となって、介入の対象をより適切に設定し、効果的な医療資源の配分が実現できるほかに、患者の健康状態や治療効果に関する詳細な情報を費用対効果分析に組み込んで推定の精度を向上できる〔Bates et al. (2014)〕。こうして、医療経済評価における人工知能や機械学習の活用は、前述した医療経済評価手法の限界を補うことが期待される。大規模で複雑なデータからより精密な情報を抽出し、医療介入の効果や費用対効果をより正確に評価することが可能となる。その結果、より適切な治療戦略の選択や医療資源の効率的な配分、さらには患者の健康状態や治療効果に関する詳細な情報を考慮した意思決定が実現される。

一方で、これらの技術の活用には前述したようにいくつかの課題や懸念もある。例えば、データの品質や信頼性、ガイドラインや関連規制の整備、プライバシーの保護などが挙げられる。ま

た、機械学習や人工知能による解析結果の透明性や解釈可能性、加えて、技術の導入にはインフラの整備、医療従事者と患者の理解向上などの課題も必要である。したがって、医療経済評価における人工知能や機械学習の活用は、医療の質と効率を向上させるための重要な一歩であり、今後さらにその有効性や実用性が検討されることが期待される。

V おわりに

人口高齢化に伴う医療費増大と保健医療制度の持続可能性において深刻な課題が生じており、医療資源の適切な配分や効率的な医療サービスの提供が求められている。これを背景に、価値に見合った医療のアプローチは、効率的な医療資源の配分、疾病の予防や進行の抑制、個別化された健康管理と疾病管理における役割が期待されて、日本の保健医療制度を改善するための有力な手段となり得ると考えられる。本稿はビッグデータおよび機械学習や人工知能の応用をはじめとしたデータ駆動型医療戦略に注目し、ビッグデータが価値に見合った医療の要点である患者の視点を重視した臨床診療、臨床開発と医療の価値に基づいた意思決定の推進における役割と関連研究の動向をレビューした。このデータ駆動型医療戦略の特徴は、ビッグデータおよび高度なデータサイエンス手法である機械学習や人工知能の普及と活用、患者の健康情報や診療記録のデジタル化、健康アプリの利用とそれに伴う患者報告アウトカムのビッグデータ化、そして複雑なデータ解析に基づいた健康関連のアウトカム、費用対効果および広義の社会経済的インパクト推定の精密化にまとめられる。臨床にかかわる健康関連アウトカムの測定、医療経済評価を通して、ビッグデータのパワーにより医療の価値をより精確にとらえた結果、限られた保健医療資源の効果的な配分、治療効果や満足度の向上につながる患者のニーズや希望に応えた個別化された医療の実現、政策決定を支える医療の価値にかかわるエビデンスの強化が期待できる〔田倉（2021）〕。

しかし、前述したように、このビッグデータアプローチにはいくつかの課題もある。例えば、データの統合と標準化、ガイドラインやセキュリティ関連規制の整備や、医療従事者や患者のビッグデータに対する理解度の向上、ステークホルダー間の意思疎通と協働などが挙げられ、海外のみならず、国内の研究でも示唆されている〔中島（2020）〕。これらの課題を克服することで、ビッグデータの活用によって日本の保健医療制度における価値に見合った医療を実現するためには、以下のような道筋が欠かせない。一つは患者報告アウトカムの収集基盤の整備と既存の病院情報システムの統合をするとともに、機械学習や人工知能を利用した大規模なデータ解析に向けて、データの標準化や統合を促進するためのデータインフラを整備しデータの相互運用性を確保する規格の制定が重要である。次に、医療従事者や患者などの関係者の理解向上が欠かせないもので、医療従事者や患者に対する患者報告アウトカム、医療経済評価とビッグデータの活用にかかわる教育と普及活動を強化することで、システムの適切な利用とデータの意味づけが促進される。最後に、ビッグデータの収集の応用にかかわる政策的な枠組みの整備が不可欠である。法的な枠組みや倫理的なガイドラインを整備するほか、社会的実装に向けて医療機関への負担を実証した上で、診療報酬の面の対応を検討する必要がある。

最後に、価値に見合った医療に向けて、日本国内におけるビッグデータを活用した医療の価値にかかわる実証的研究と医療経済評価はまだ限られるものの、これまで整備して蓄積された膨大なビッグデータと病院情報システムの基盤を最大限に活用するとともに、データの質の向上とデータサイエンスに基づいた複雑系の分析手法の開発が不可欠である。そのために、データ利用のためのルールや規定の策定や研究助成金の提供など研究の安定性と信頼性を確保するための政府側の取り組みと、医療分野の研究者や学術機関と、産業界やIT企業との連携強化、国際的な協力とノウハウの共有、人材の育成も期待される。

参考文献

- Porter M.E., Teisberg E.O. (2006) "redefining health care creating value-based competition on results". Harvard Business Press. Boston.
- Porter M.E. (2010) "What is value in health care" *The New England Journal of Medicine*, Vol.363, pp.2477-2481.
- Berwick D.M., Nolan T.W., Whittington J. (2008) "The triple aim: Care, health and cost". *Health Affairs*, Vol.27 (3), pp.759-769.
- Baumhauer J.F., Bozic K.J. (2016) "Value-based healthcare: patient-reported outcomes in clinical decision making". *Clinical Orthopaedics and Related Research*, Vol.474, pp.1375-1378.
- FDA (2009) "Guidance for industry - Patient-reported outcome measures: Use in medical product development of support labelling claims", <https://www.fda.gov/media/77832/download> (アクセス日: 2023年12月4日) .
- Temel, J.S., Greer, J.A., Muzikansky, A., et al. (2010) "Early palliative care for patients with metastatic non-small-cell lung cancer". *New England Journal of Medicine*, Vol.363 (8), pp.733-742.
- Zimmermann, C., Swami, N., Krzyzanowska, M., et al. (2014) "Early palliative care for patients with advanced cancer: a cluster-randomised controlled trial". *The Lancet*, Vol.383 (9930), pp.1721-1730.
- Organization for Economic Cooperation and Development (2017) "Recommendations to OECD Ministers of Health from the high-level reflection group on the future of health statistics - Strengthening the international comparison of health system performance through patient-reported indicators." <https://www.oecd.org/health/health-systems/Recommendations-from-high-level-reflection-group-on-the-future-of-health-statistics.pdf> (アクセス日: 2023年12月4日) .
- Klutz P.G., O'Connor D.J., Soltys K. (2018) "Incorporating the patient experience into regulatory decision making in the USA, Europe and Canada". *Lancet Oncology*, Vol.19 (5), pp.e267-e274.
- Mercieca-Bebber R., King M.T., Calvert M.J., Stockler M.R., and Friedlander M. (2018) "The importance of patient-reported outcomes in clinical trials and strategies for future optimization". *Patient Related Outcome Measures*, Vol.9, pp.353-367.
- Churrua K., Pomare C., Ellis L.A., Long J.C., Henderson S.B., Murphy L.E.D., Leahy C.J., Braithwaite J. (2021) "Patient-reported outcome measures (PROMs): A review of generic and condition-specific measures and a discussion of trends and issues" *Health Expectations*, Vol.24, pp.1015-1024.
- Aaronson N.K., Ahmedzai S., Bergman B., et al. (1993) "The European Organization for Research and Treatment of Cancer QLQ-C30: A quality-of-life instrument for use in international clinical trials in oncology" *Journal of the National Cancer Institute*, Vol.85 (5), pp.365-376.
- Rector T.S., Cohn J.N. (1992) "Assessment of patient outcome with the Minnesota Living with Heart Failure questionnaire: Reliability and validity during a randomized, double-blinded, placebo-controlled trial of pimobendan" *The American Journal of Cardiology*, Vol.70 (12), pp.1587-1593.
- Ware Jr.J.E., Sherbourne C.D. (1992) "The MOS 36-item short-form health survey (SF-36): I. Conceptual framework and item selection" *Medical Care*, Vol.30 (6), pp.473-483.
- The WHOQOL Group (1998) "Development of the World Health Organization WHOQOL-BREF quality of life assessment" *Psychological Medicine*, Vol.28 (3), pp.551-558.
- EuroQol Group (1990) "EuroQol-A new facility for the measurement of health-related quality of life" *Health Policy*, Vol.16 (3), pp.199-208.
- Le Corroller A., Bonastre J. (2023) "Patient-reported measures: How useful in health economics?" *The European Journal of Health Economics*, Vol.24, pp.1-4.
- Nixon R.M., Devlin N.J., Kind P. (2003) "The measurement and valuation of health status using EQ-5D: A European Perspective" *Springer*.
- Luo N., Liu G., Li M., Guan H. (2019) "A review on the methods for mapping health status to utility scores" *Value in Health Regional Issues*, Vol.18, pp.160-165.
- Calvert, M., Blazeby, J., Altman, D. G., Revicki, D. A., Moher, D., & Brundage, M. D. (2013). Reporting of patient-reported outcomes in randomized trials: the CONSORT PRO extension. *JAMA*, Vol.309 (8), pp.814-822.
- Snyder C.F., Aaronson N.K., Choucair A.K., et al (2016). Implementing patient-reported outcomes assessment in clinical practice: A review of the options and considerations. *Quality of Life Research*, Vol.25 (5), pp.1109-1126.
- Bell, M. L., Fairclough, D. L., & Fiero, M. H. (2018). Handling missing items in the Hospital Anxiety and Depression Scale (HADS): a simulation study. *BMC research notes*, Vol.11 (1), pp.1-10.
- Basch, E., Deal, A. M., Kris, M. G. et al (2016). Symptom monitoring with patient-reported outcomes during routine cancer treatment: a randomized controlled trial. *Journal of Clinical Oncology*, Vol.34 (6), pp.557-565.
- Jones, B., Spicer, J., Bates, D., & Tolley, C. (2016). Impact of Patient-Reported Outcomes in Oncology: A Longitudinal Analysis of Patient-Physician

- Communication. *Journal of Oncology Practice*, Vol.12 (5), pp.e618-e625.
- Bianchim M.S., Crane E., Jones A., Neukirchinger B., Roberts G., McLaughlin L., Noyes J. (2023) “The implementation, use and impact of patient reported outcome measures in value-based healthcare programmes: A scoping review”, *PLoS One*, Vol.18 (12), p.e0290976.
- Sutherland J.M., Rajapakse S., Crump T., Chartrand A., Liu G., Karimuddin A. “Comparing patient-reported outcomes across countries: An assessment of methodological challenges” *Journal of Health Services Research & Policy*. Vol.26 (3), pp.163-171.
- Calvert, M., Kyte, D., Mercieca-Bebber, R., et al. (2018). Guidelines for inclusion of patient-reported outcomes in clinical trial protocols: the SPIRIT-PRO Extension. *JAMA*, Vol.319 (5), pp.483-494.
- European Medicines Agency. (2016). Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health-related quality of life (HRQL) measures in the evaluation of medicinal products. Retrieved from https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-regulatory-guidance-use-health-related-quality-life-hrql-measures-evaluation_en.pdf
- Sloan J.A., Halyard M., Naqa I.E., Mayo C. (2016) “Lessons from large scale collection of patient reported outcomes: implications for big data aggregation and analytics” *International Journal of Radiation Oncology-Biology-Physics*, Vol.95 (3), pp.922-929.
- Eriksen J., Bertelsen P., Bygholm A. (2020) “The digital transformation of patient-reported outcomes’ (PROs) functionality within healthcare” *Studies in Health Technologies and Informatics*. Vol.270, pp.1051-1055.
- Calvert M.J., Thwaites R., Kyte D., Devlin N. (2015) “Putting patient-reported outcomes on the “Big data road map”. *The Royal Society of Medicine*, Vol.108 (8), pp.299-303.
- Maguire R, McCann L, Kotronoulas G, et al. (2021) “Real time remote symptom monitoring during chemotherapy for cancer: European multicenter randomized controlled trials (eSMART). *BMJ*, Vol.374, p.n1647.
- Ruland C.M., Holte H.H., Røislien J, et al. (2010) “Effects of a computer-supported interactive tailored patient assessment tool on patient care, symptom distress, and patients’ need for symptom management support: a randomized clinical trial.” *Journal of the American Medical Informatics Association*. Vol.17 (4), pp.403-410.
- Rajkomar A., Oren E., Chen K., et al. (2018) “Scalable and accurate deep learning with electronic health records.” *NPJ Digital Medicine*. Vol.1 (1), p.18.
- Goldstein B.A., Navar A.M., Carter R.E. (2017) “Moving beyond regression techniques in cardiovascular risk prediction: applying machine learning to address analytic challenges.” *European Heart Journal*. Vol.38 (23), pp.1805-1814.
- Rivera S.C., Liu X., Hughes S.E., Dunster H, Manna E., Denniston A.K., Calvert M.J. (2023) “Embedding patient-reported outcomes at the heart of artificial intelligence health-care technologies” *Lancet Digital Health*, Vol.5, pp.e168-e173.
- Pearce F.J., Rivera S.C., Liu X., Manna E., Denniston A.K., Calvert M.J. (2023) “The role of patient-reported outcome measures in trials of artificial intelligence health technologies: a systematic evaluation of Clinical Trials.gov records (1997-2022)” *Lancet Digital Health*, Vol.5, pp.e160-e167.
- MacLean C.H., Antao V.C., Chin A.S., McLawhorn A.S. (2023) “Population-based applications and analytics using patient-reported outcome measures” *Journal of American Academy of Orthopaedic Surgeons*, Vol.31, pp.1078-1087.
- Modi S., Feldman S.S., Berner E.S., et al. (2024) Value of electronic health records measured using financial and clinical outcomes: Quantitative study. *JMIR Medical Informatics*, Vol.12, p.e52524.
- Gold M.R., Siegel J.E., Russell L.B., Weinstein M.C. (1996) “Cost-effectiveness in health and medicine” *Oxford University Press*.
- Bojke L., Claxton K., Sculpher M, et al. (2009) “Characterizing structural uncertainty in decision analytic models: A review and application of methods” *Value in Health*, Vol.12 (5), pp.739-749.
- Claxton K. (2008) “Exploring uncertainty in cost-effectiveness analysis” *Pharmacoeconomics*, Vol.26, pp.781-798.
- Lee W., Schwartz N., Bansal A., et al. (2022) “A coping review of the use of machine learning in health economics and outcomes research: Part 2 - Data from nonwearables” *Value in Health*, Vol.25 (2), pp.2053-2061.
- (2023) “A coping review of the use of machine learning in health economics and outcomes research: Part 1 - Data from wearable devices” *Value in Health*, Vol.26 (2), pp.292-299.
- Whicher D., Rapp T. (2022) “The value of artificial intelligence for healthcare decision making - Lessons learned” *Value in Health*, Vol.25 (3), pp.328-330.
- Leung T.I., van Merode G.G. (2018) “Chapter 14 Value-based health care supported by data science”, *Fundamentals of Clinical Data Science*, Springer Link, pp.193-212.
- Rose S. (2018) “Robust machine learning variable

- importance analyses of medical conditions for health care spending”. *Health Services Research*, Vol.53 (5), pp.3836-3854.
- Bates D.W., Sarua S., Ohno-Machado L., Shah A., Escobar G. (2014) “Big data in health care: Using analytics to identify and manage high-risk and high-cost patients”. *Health Affairs*. Vol.33 (7), pp.1123-1131.
- 下妻晃二郎 (2020) 「患者報告アウトカム (PRO) とは何か」, 『日本クリニカルパス学会誌』, Vol.22, No.3, pp.197-200.
- 厚生労働省科学研究班 (2022) 「患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome: PRO) 使用についてのガイダンス集」 (アクセス日: 2023年12月4日)。
- 嶋田元 (2020) 「疼痛コントロールにおけるPX (患者経験), PRO (患者報告アウトカム) による質改善」『日本クリニカルパス学会誌』, Vol.22 (3), pp.201-208.
- 堀江良樹 (2021) 「がんの日常診療における, Patient-reported outcome (PRO) の取り組み—ePRO+電子カルテ連携—」『薬剤疫学』, Vol.26, p.S56。
- 平山英幸, 里見絵理子, 木澤義之, 宮崎万友子, 田上恵太, 関根龍一, 鈴木梢, 余谷暢之, 菅野康二, 安保博文, 坂下明大, 佐藤一樹, 中川左理, 中澤葉宇子, 浜野淳, 宮下光令 (2022) 「患者報告型アウトカムを用いた専門的緩和ケアの質評価のための患者登録システムの開発: 他施設パイロット調査」『Palliative Care Research』, Vol.17 (4), pp.171-180。
- 田倉智之 (2021) 「医療の価値と価格: 決定と説明の時代へ」医学書院。

(がい・じゃくえん)

Big data and value-based healthcare

GAI Ruoyan*

Abstract

In recent years, the concept of value-based healthcare has garnered global attention. This approach prioritizes maximizing patient health outcomes while optimizing healthcare costs, emphasizing a patient-centered perspective. Simultaneously, advancements in big data, machine learning, and artificial intelligence in the field of health care hold significant promise for advancing value-based healthcare. This paper reviews existing research to explore the potential and challenges of big data in promoting value-based healthcare, offering insights from the perspective of patients. Specifically, discussions revolve around the application of patient-reported outcomes in clinical trials and clinical practice, the integration of big data and its societal implementation, and the refinement of healthcare economic evaluations. This scoping review aims to address the challenges facing Japan's healthcare system and provide strategies for enhancing both the quality and efficiency of healthcare delivery.

Keywords : Value-based health care, Big data, Patient-reported outcomes, Economic evaluation, Data Science

* PhD, MSc, The Office of Global Relations, Nagasaki University