



開催レポート

EMPOWER 2021

Hemophilia Patient Advocacy Workshop and Networking

～血友病患者さん対象 オンラインセミナー～

日時

2021年**11**月**7**日(日)
14:00～16:00

開催形式

オンラインセミナー

主催：バイエル薬品株式会社

EMPOWER 2021

Hemophilia Patient Advocacy Workshop and Networking

開催レポート

～血友病患者さん対象 オンラインセミナー～

日時

2021年11月7日(日) 14:00～16:00

開催形式

オンラインセミナー

開催の目的

●血友病治療や医療政策に関する理解向上 ●異なる疾患・立場の人との交流 ●患者会活動の充実と活性化

モデレーター

国立病院機構 大阪医療センター 血友病科GM／感染症内科医長 西田 恭治 先生

講演Ⅰ

「血友病治療の現状と将来展望2022」

▶▶ 参加者へのリアルタイムアンケート

国立病院機構 大阪医療センター
血友病科GM／感染症内科医長

西田 恭治 先生

血友病患者

野村 周平 さん

講演Ⅱ

「薬の価値を社会に伝える」

▶▶ 参加者へのリアルタイムアンケート

横浜市立大学 医学群 健康社会医学ユニット 准教授
東京大学大学院薬学系研究科 医薬政策学 客員准教授

五十嵐 中 先生

講演Ⅲ

「患者の声を社会に届ける」

一般社団法人CSRプロジェクト 代表理事

桜井 なおみ さん

質疑応答・ご感想

新型コロナウイルスの流行で、 血友病患者さんを取り巻く 環境に大きな変化。

輸血で凝固因子を補充しようとして試みられたのは、1960年頃です。その後、血友病患者さんに凝固因子製剤を投与することで止血を図るようになり、さらに精緻な治療へと進化して、遺伝子組み換え製剤が生まれました。現在ではその中でも半減期(薬の成分の血中濃

国立病院機構
大阪医療センター
血友病科GM／感染症内科医長

西田 恭治 先生

1980年、神戸大学医学部卒業。兵庫医科大学、東京医科大学などを経て、2008年から国立病院機構大阪医療センターに勤務。2009年に感染症内科医長に就任。日本内科学会認定内科医、日本血液学会認定血液専門医・指導医、日本エイズ学会認定医。



講演Ⅰ

「血友病治療の現状と

将来展望2022」



度が半減するまでの時間)を延ばして自己注射の負担を軽減させる薬や、凝固因子に頼らずに止血を図るノンファクター製剤も登場しています。一方治療の目的も、「止血」から「出血の予防」に変化を遂げてきました。そして今、少なくとも先進国の患者さんにおいては、出血ゼロを目指すのみならず、さまざまな面で血友病ではない方と同等のQOL[※]を目指し、社会生活を送る上で制限がなくなってきました。

しかし、2019年末から世界中で新型コロナウイルス感染症が大流行しました。血友病のコミュニティにも緊張感が走り、ヨーロッパのヘモフィリアコンソーシアム(European Haemophilia Consortium, EHC)をはじめとするさまざまな患者団体が、凝固因子製剤の確保や医療財源の維持など、血友病治療を縮小または停滞させないために声明を出しました。また同時に、遠隔医療の重要性について気付かされた出来事でもありました。

※QOL: Quality of Life(生活の質)

世界血友病連盟(WFH=World Federation of Hemophilia)も、非常に危機感を強めています。同連盟の役割の一つは人道支援です。現在、凝固因子製剤の治療を受けられるのは主に先進国で、世界の血友病患者さんの4人に1人だけという「治療の不均衡」が起こっています。どの国においても、できるだけ多くの患者さんに必要な治療を行き渡らせるために製薬メーカーや血液バンクとも協力しながら凝固因子製剤を寄贈するなどの活動をしています。が、近年の状況で困難になっています。

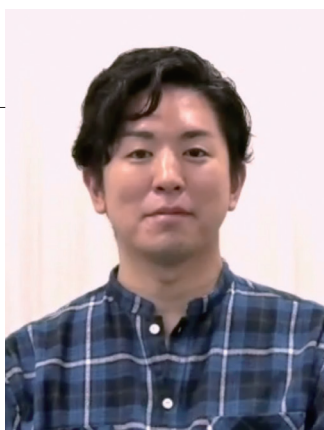
私たちは10年前から「Hemophilia Advocacy Advisors Board(HAAB:ハープ)」というグローバルな団体を作り、各国の患者さんや患者会、政府の認識を高めていこうという取り組みを行っています。年に1度のサミットを開催し、過去の9回で合わせて60カ国から350人のメンバーが集まって、血友病を取り巻く問題を話し合ってきました。残念ながら2021年、2022年はオンラインでの開催ですが、2023年こそはまた多くの国の方々が集まって再び意見交換ができることを期待しています。

なお、HAABのボードメンバーは現在6名で、私もメンバーの1人です。ここからは、もっとも最近の参加者である野村周平さんにもお話をうかがいます。

西田恭治先生

野村周平さん 対談

変化しつつある患者会の役割。興味を持ってもらえるきっかけ作りを。



血友病患者 野村 周平さん

2018年、国際的な血友病患者の集まり「国際血友病アドボカシー推進サミット」に参加。これを機に「全国ヘモフィリア友の会」活動に参加できるようになる。また「Young Hemophilia Club」にも所属しており、血友病患者に限らず保因者・他血友病関連疾患・看護師の仲間とも活動している。自身は血友病A重症の患者であり、足首・肘関節に可動制限があるが、海に潜るなど体を動かす楽しみも諦めず、精力的に活躍している。

西田 野村さん、HAABに参加された印象を教えてくださいませんか。

野村 私は今まで2回HAABに参加しました。それまでは、正直自分の病気にそれほど関心が高くなかったのですが、世界中の血友病団体のリーダーたちが大変意欲的に活動されている様子に触れて、多くのことを受けます。

取れたと思います。何より、世界には血友病の治療を十分に受けられない国があり、その国から参加された方の声は衝撃的でした。

西田 そうですね、私も毎回、参加者の意識がとても高いと感じます。日本においては、過去を振り返っても患者会の活動は必ずしも活発とは言えず、患者さん同士の「情報・意見交換の場」という役割が中心だったと思います。今後、日本において患者会の活動は、どのように変わっていくと野村さんはお考えですか。

野村 以前は血友病自体が未知のことも多く、医療機関などで得られる情報は限られていたので、患者会での情報交換は特に重要だったと思います。しかし、今は全国で血友病を診療してくださる先生が増え、インターネットで情報を得ることも可能になってきました。患者や患者家族と情報交換ができる患者会はやはり重要ですが、今までとは違う役割も求められるようになるかと思っています。

西田 そうですね。インターネットの普及でかえって情報過多になり、正しい情報の選択が難しくなっているようにも感じます。患者会のニーズを見出せない状況の中、若い患者さんのリーダーが生まれにくいことも心配しています。

野村 興味を持ってもらえるきっかけがあれば良いかと、よく考えています。また、今回の新型コロナウイルス感染症の流行で危機感を持った患者さんも多いはずなので、そうした視点からも患者会を必要としてくれるようになればと思います。

西田 これからも、一緒にがんばりましょう。



患者会の未来について、和やかかつ真剣に話される西田先生と野村さん。次世代の患者さんリーダーである野村さんに、西田先生が期待を寄せられている様子が伝わります。



「薬の価値を社会に伝える」



横浜市立大学 医学群
健康社会医学ユニット 准教授
東京大学大学院薬学系研究科
医薬政策学 客員准教授

五十嵐 中 先生

2002年東京大学薬学部薬学科卒業。
2008年東京大学大学院薬学系研究科
博士後期課程修了。2008年から同大学
院特任助教・2015年から特任准教授を
経て、2019年から現職。専門は薬剤経済
学。医療経済ガイドラインの作成・個別の
医療技術の費用対効果評価・QOL評価
指標の構築など、多方面から意思決定の
助けとなるデータの構築を続けてきた。

た。医療は特別という風潮も、それを後押ししてきました。

ここ数年間、高額な治療薬がいくつか話題となりました。2015-16年頃に話題になったがんの免疫チェックポイント阻害薬・C型肝炎の治療薬は、価格のみならず、価格×使用人数の財政影響が問題視されました。この時代は「血友病のような希少疾病の薬なら、高くても財政影響が小さいから問題ない」のような考え方もできました。しかし2018年から、白血病や小児の遺伝性疾患に、CAR-Tや遺伝子治療などの数千万円から一億円を超える薬が出てきます。希少疾病で財政影響は小さくても、薬価が著しく高ければ、問題視される時代になりました。財政影響の大小に関わらず、世の中が高薬価を疑問視するのならば、それに対して説明責任を負う。これは、血友病でも例外ではありません。そして新型コロナウイルス感染症の流行で、「オカネ＝医療費」でなく、物理的な医療のリソースに限りがあること。さらに言えば、医療と言っても聖域ではなく、感染症対策と経済活動のバランスをとる必要があることが、広く皆に認識されました。

ここで注目されるのが、国民皆保険で

す。本来の国民皆保険(UHC)は「**みんなが安価で必要な医療にアクセスできる**」という3つの条件があります。一方日本流の国民皆保険では、この条件プラス「保険ですべての薬の面倒を見る」という内容です。これは世界の中でも例外的で、「すべての医療の面倒を見る」は決して必須ではないのです。保険にメリハリを付けるような制度は日本にはなじまない、というような主張もよく聞かれます。しかし昨年実施したアンケートでは、保険制度を持続させるための方法として「メリハリを付ける」の支持率は、「自己負担や保険料を上げて現状通り」を上回り、受益者であろう高齢者でもさらに差が広がりました。保険にメリハリを付けるとしたら、承認された薬について、皆のオカネを出すに値するかの「費用対効果」も一つの軸になります。費用対効果の「効果」はオカネではなく、効果そのもの・健康上のメリットを指します。新たな治療で医療費が多くなったとしても、それに見合った効き目があれば、費用対効果に優れる、とされます。

効き目の指標は、血友病の寛解のような狭いもの、生存年数のような広いものまでさまざまな分野で高い薬が話題になっている近年では、異なる領域の薬とも比べられるような、広めのものさしで重要性をアピールする必要があります。費用対効果で良く使われ

るのは、生活の質すなわちQOLで重みを付けた生存年・QALY(Quality = 重み、Adjusted = 調整、Life・Year = 生存年)です。治療の延命効果だけでなく、治療にともなう生活の質の向上も、評価できるものさしです。

しかしこのQALYも、評価軸として充分ではありません。労働生産性や病気の重篤度、さらには平等性など、「オカネとQALY」以外にどのような価値の要素があるか、最近研究が進んでいます。もちろん、さまざまな要素のAPIにはデータが必須です。例えば認知症の場合、病気そのものが進行しても医療費は変わりませんが、実は認知症のケアに必要な費用の9割は介護に関するもので、進行するほどに負担が重くなります。それならば介護に関わる負担や費用を明確にし提示することが重要です。また、「新しい」だけでは価値になりません。例えばダヴィンチというロボット手術は、導入当初は「新しい技術」であることに上乗せの価格が付きましたが、現在は上乗せのためには効果の改善を示すことが求められています。やはりプラスアルファの価値を示し、それに対して評価されることが理想的だと考えています。そして患者さんにとっては、患者さんだからこそのわかる治療の価値や収集できるデータを見直し、必要なことを発信していくことも大切なポイントだと思います。

将来、薬の必要性や価値がきちんと評価される世の中に。

今回、医療費に関わる薬の費用対効果評価と価値評価についてお話しします。

限りある医療資源の有効活用は、医療経済学の基本です。これまではオカネの側面のみが注目され、足りなくなれば予算を増やせば良いとして、実質的には無限であるかのように考えられてしまし

「患者の声を社会に届ける」



一般社団法人
CSRプロジェクト 代表理事

桜井 なおみさん

大学で都市計画を学んだ後、卒業後はコンサルティング会社にてまちづくりや環境教育、排出権取引や費用対効果などの業務に従事。2004年、乳がん罹患後は、働き盛りで罹患した自らのがん経験や社会経験を活かし、小児がんを含めた患者・家族の支援活動を開始、現在に至る。一般社団法人CSRプロジェクト代表理事、がんセンターソリューションズ(株)代表取締役社長、NPO法人HOPEプロジェクト理事長、として活動。技術士(建設部門)、社会福祉士、精神保健福祉士、産業カウンセラー。

さまざまな学びや工夫を重ね、
患者さんの切実な要望を
実らせるために活動。

私が代表理事を務めているCSRプロジェクトのCSRとは、「Cancer Survivors Recruiting」の略で、がん患者さんの社会生活や就業などを支援している団体です。

私は2004年、30代の時に乳がん

を経験しました。当時、がんを取り巻く環境にはさまざまな問題がありました。海外で当たり前に処方されている薬が日本では使えない「ドラッグラグ」、都会で受けられる治療が地方では受けられない「治療の均てん化」問題、がんに関する情報量が非常に少ないことなどです。これらを何とかしなければと、患者会の方たちや国会議員と一緒に活動し、「がん対策基本法」を成立させました。この頃から患者会が、政策立案や診療報酬、緊急時だけでなく長期の心のケアなど、病気に関するさまざまな領域に関わって意見を発信するようになりました。

患者さんが自分たちの声を社会へ届ける時に、大切なことがあります。私は2009年、自身の治療が落ち着いたタイミングでアメリカへ行き、そこで患者会の集まりに参加しました。その時「アドボカシー・トレーニング」という、患者の声をどのように政策に届けるかを学ぶ取り組みに出会いました。また、世界的な共同研究をどのように進めるかというプロジェクトリードのトレーニングプログラムにも参加しました。この時、「数字を用いて伝えること」「I(私)とWe(私たち)という言葉を意識して

上手に使うこと」「科学を批判的に吟味できる目を持つ重要性」を学びました。患者は医療消費者でもある以上、税金を投入するならば、ただ「困っている」と主張するのではなく数字を用いた説明が必要です。また、政治や政策の仕組みそのものを学ぶ重要性も教わりました。まさに市民科学者のような人たちを育てている感じで、大変驚きました。

私もそうでしたが、患者会活動では、最初は自分のために行動します。「自利」ですね。しかしひと段落した時に、自分の経験を役立てたいと感じます。いわゆる「利他」です。さらに、社会全体に関わる公益性のある利他であれば、影響が及ぶ範囲も広がります。だからこそ数字が必要になるのです。数字や「自利・利他」を明確にし、自分にとって利益相反になる部分も含めて話すことが重要です。そしてこのことから、自分たちが患者としての経験や思いを価値として訴える場合、さまざまな背景や環境を紐解いて、ロジックを組み立てていくことが大切だと考えています。

この経験を活かして最近取り組んだ例が3つあります。1つ目は「妊孕性機能運動」です。がん患者さんが妊娠を望んだ場合、不妊治療には該当しないためもともと全額自己負担でした

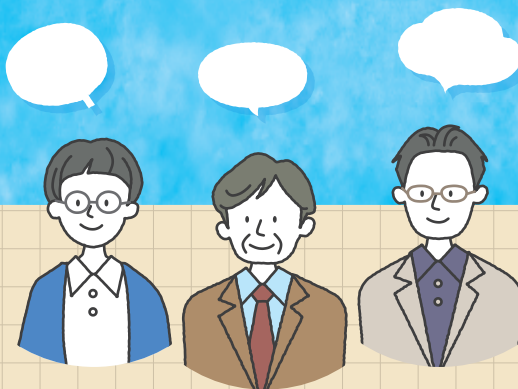
が、それに対して支援を望むものです。2つ目は「遺伝性疾患」です。がんが未発症の部位でも遺伝的に発症リスクが高い場合、「予後改善につながる治療」に対して保険収載を主張しました。将来的な発症リスクや医療費のデータを提示して費用対効果を示し、満額承認されました。3つ目は、「健康保険法」への改正です。この法律ができた当時から、現在では医療の体制が大きく変わっているため、例えば働きながら治療ができるように分割取得型傷病手当金を新設してほしいと要望を提出しました。こうした働きかけもあり、本年1月1日から法改正、施行がされています。本当に大きな改正になります。

こうした活動では、さまざまな障壁があります。要望を提出する先を見極めること、また提出するタイミングも大切です。自分たちが絶対に譲れない一線を設けつつも、要望が通らない時は代替案を用意するなど、柔軟に交渉するようにしています。また、一人よりも集団の声の方がインパクトが大きく、力を持ちます。

私たちには、体験があるからこそ見えたり語れる世界がたくさんあります。さまざまな要望活動をしていく上で、医療経済の領域などでは、病気に関わらずみんなと一緒に声を上げていくことも大切ではないかと思っています。

質疑応答・ご感想

「EMPOWER2021」の最後に、視聴されたみなさまから多くの質問やご感想が寄せられ、ご講演された西田先生、五十嵐先生、桜井さんにお答えいただきました。



Q.1

「医薬品の価格を下げること」は、どのような意義があるのでしょうか。薬価を下げることで解決できる問題はありますか。

A.1



五十嵐先生

価格を下げることで解決できる問題もありますし、一部解決できない問題もあります。諸外国において、もともとの価格では公的医療システムの中で費用を負担しきれない薬に対し、国と企業の合意のもとで価格をある程度下げ、給付を図っていくシステムがあります。公的システムで全額負担が難しく患者さんの自己負担が大きい場合、その薬の市場がほとんどなくなってしまうため、価格を

抑えて給付するという考え方です。同様の方法ですべての薬の価格を下げれば、ある程度医療費を抑えることは可能です。しかし全部の薬に対して一律に下げるのではなく、それぞれの薬の良い点・不十分な点をきちんと評価して価格を決めるというメリハリを付けるのが、個人的には良いと思っています。その方が、次の新薬を開発する際のインセンティブ(動機付け)にもなると考えています。



Q.2

リアルタイムアンケート No.5 の「血友病に特化したデータ」とは、何でしょうか。(血友病治療の公費助成費が継続されるためには、どのようなデータが必要なのでしょう。)

※リアルタイムアンケートとその結果は、P.8をご覧ください。

A.2



五十嵐先生

一般的によく挙げられるデータは、1つ目に「生産性の損失」に関するものです。特に「介助者の負担・仕事損失」に関して、介助によって損失する時間や給与から算出します。2つ目は「治療の簡便性や間隔」です。血友病患者さんの場合、定期的な血液凝固製剤の輸注が必要です

が、輸注の方法が簡単になったり回数が少なくなることが、どれほどのメリットを生むかを評価します。3つ目は「その病気ならではの特殊なニーズ」です。血友病患者さんならではのニーズを患者さんが拾い上げてデータ化できれば、大きな力になると思います。



桜井さん

私たちが遺伝性のがん疾患に関する取り組みをしていた時は、「予後改善につながる予防的治療」に対して、通院回数や通院時の治療内容、発症リスクに関するデータを提出しました。実際に発症した患者さんの年齢や人数などを調査し、費用を算出しました。「今、1回の予防的治療を受ける方が、将来的に考えても費用負担が軽い」という点を訴えたのです。こうしたアプローチによって、診療報酬の対象として認められました。

それから私たちは今、「治療に関する研究計画

の最初の段階から、患者さんの声を取り入れてほしい」という要望を出しています。例えば、飲み薬・貼り薬・注射のどのタイプの薬にするかで、患者さんにとっては治療の受けやすさが大きく異なります。将来的に、薬価の仕組みを評価する際に、こうした点も評価ポイントになるのが望ましいですね。海外では、医師ではなく看護師が一部の治療をできるようにしたり、薬剤師が患者さんに薬を渡せるようにしようなど、最初にそこまで考慮しながら研究を進めています。

Q.3

日本においては、薬を公的医療保険の対象として採用するかどうか決める場に、患者さんは参加していません。その理由として「採用の可否を判断する材料は、薬の価格のみであるから」と言われます。薬価の決定に、患者さんも参加できるのでしょうか。



A.3



五十嵐先生

今の日本の医療技術評価(HTA)^{※1}では、患者さんをはじめさまざまなステークホルダー^{※2}が、議論の場に十分参加できているとは言えない状況です。その理由としてHTAでは「議論は、それぞれの医療技術の価格を判断する目的で行われるのであり、結果的に薬価が下がることは患者さんにとってメリットにつながるので参加しなくても問題ない」という考え方です。

しかし、私は2つの懸念点があります。1つは、確かに今はこの議論や評価が医療技術の価格決定のみに用いられていますが、このシステムのままで、今後新しい薬に対して「使用する・しない」「保険適用する・しない」のテーマにまで決定範囲が拡大してしまう可能性があり、その時に、患者さんやステークホルダーが十分に参加できていないのは、大きなリスクになります。もう1つは、日本のHTAでの評価が世界に及ぼす影響です。

HTAは国によって異なり、他国のHTAについて知る機会はほとんどありません。しかし、結果的に価格が下がったことはすぐにわかるため、「この薬は日本で費用対効果が良くないと判断された」「日本のHTAで低評価された」などと、海外に対してネガティブな印象を与えてしまいます。これは、薬の開発が進む世界の中で、日本の重要性が下がってしまうリスクがあると考えています。そのため、決して将来も今のように、さまざまな立場の人が参加しなくても良い、とは考えません。



- ※1 医療技術評価(HTA)……医療技術(医薬品や医療機器、医療者から提供される手技など)の使用にかかるコストと、そこから生み出される健康上のメリットを評価し、保険医療にかけられるコストを決定する科学的プロセス。医療システムの効率を高めることが目的。
- ※2 ステークホルダー……行政や企業、NPOなどの活動に、直接・間接的な利害関係がある人のこと。

ご感想

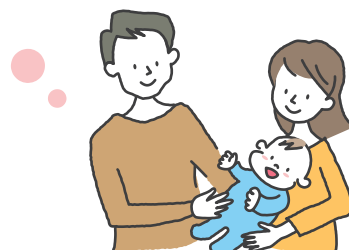
私は、4歳の血友病A重症患者の母親であり、看護師をしています。私の父親が血友病であったため、自分が確定保因者であることは分かっていました。妊娠が判明してから感じたのは、血友病は希少疾患であり、私自身も父親しか患者を見たことがなかったのですが、医師でも疾患に対する知識・理解がない方がいらっしゃることに大変ショックを受けました。また、私の周囲でも、病名は聞いたことがあるという程度

の認識で、疾患についての知識を持っている医療者が少ないと感じています。医療関係者がこのような状況なので、血友病の子どもの親になり、情報収集の場として、患者会の存在は大変重要な存在だと感じています。現在はSNSの交流がメインとなっていますが、小さな子どもを持つ親たちが、必要な時に必要な情報を得られるような環境ができれば、とてもありがたいと感じています。



西田先生

貴重なご意見を、ありがとうございます。これは私たちにとって押さえておかなければならない非常に重要なポイントで、患者会のもっとも基本的な役割と活動内容です。情報の欠如による不利益が患者さんに生じないことが重要で、患者会はそれを叶える存在だと思います。



リアルタイムアンケート

今回、ご講演の間とセミナーの最後に、リアルタイムアンケートを実施しました。



1 現在、患者会活動に参加されていますか。(回答は1つ)	50% 患者会運営に携わっている 20% 会員として参加している 10% 過去に参加したことがあるが現在は参加していない 20% 参加したことはない
2 講演Ⅰで、どの問題に関心がありましたか。(複数回答可)	23% コロナの血友病医療への影響 61% 高騰している血友病医療費 48% 遠隔医療への取り組み 32% 人道支援プログラムの必要性 23% Hemophilia Advocacy Advisors Board(HAAB)の取り組み
3 医療技術評価をご存知でしたか。(回答は1つ)	41% 知らなかった 55% 聞いたことはある 3% 人に説明できるぐらいに知っている
4 講演Ⅱで、医療技術評価について理解できましたか。(回答は1つ)	7% よく理解できた 34% 理解できた 41% どちらかという理解できた 17% あまり理解できなかった
5 今後、血友病治療の公費助成が継続されるためには、血友病に特化したデータが必要だと思いますか。(回答は1つ)	55% とても必要だと思う 41% 必要だと思う 0% あまり必要ないと思う 3% まったく必要ないと思う(すでに十分ある)
6 現在、患者会活動に参加されている(またはこれまで参加したことがある)方におうかがいします。参加されている(または参加された)もっとも大きな理由は何ですか(何でしたか)。(回答は1つ)	27% 患者会運営のため 0% 企画の立案と実施のため 36% 情報の収集と共有のため 27% 他の患者さんとの交流のため 9% その他
7 患者の声を社会へ届けるために、患者会がもっとも優先するべき課題は何だと思いますか。(回答は1つ)	32% 血友病特有のエビデンスを構築する(調査研究の企画・実施) 25% 患者リーダーを育てる 7% 患者の課題に関して、政策決定者へ提言する 32% 患者同士のワークショップなどで意見交換し、患者の声として情報発信する 4% その他
8 今後の活動の参考として、お聞かせください。あなたの関心が高いトピックはどれですか。(複数回答可)	50% 血友病治療 20% 血友病マネジメント(関節ケアなど) 30% 医療政策 30% 患者会活動(血友病の他にも様々な疾患を含む) 50% 患者同士の交流 0% その他
9 本セミナーの内容で、今後、今よりも積極的に患者会へ参加されたいと思いましたか。(回答は1つ)	60% とてもそう思った 40% 思った 0% あまりそう思わなかった 0% まったくそう思わなかった