

事業名：ベトナムにおける遺伝性血管性浮腫の診断方法の確立・治療の強化、
ガイドライン策定の支援事業

2年目

実施主体：武田薬品工業株式会社

対象国：ベトナム社会主義共和国

対象医療技術等：①HAE*の検査、診断、治療、新規治療薬
②HAE診療の中核拠点の構築

事業の背景

- 世界には約7,000種類の希少疾患が存在し、その患者数は約4億人にもなると報告されており、国際的に希少疾患対策の重要性は高まっているものの、新興国での希少疾患の認知度は低い。特にHAEは未診断だと命に関わる可能性のある疾患である。
- HAEの罹患率（人口5万人に1人）から推計されるベトナムにおける患者数は約2,000名にもなると推定される。しかしHAEは診断率が顕著に低い疾患であり（世界平均：54%、ベトナム：4%）、この4%の診断についても診断手段のないベトナムでは確定診断とは言えず仮の診断となっている。
- こうした課題に対処すべく、ベトナム保健省は希少疾患の診断・治療の改善のための覚書を当社と締結しており、ホーチミン喘息アレルギー臨床免疫学会もHAEの環境改善に取り組んでいる。

事業の目的

下記取り組みによってベトナムにおけるHAEの認知度向上、検査、診断、治療の向上に取り組む。

- 医療従事者、社会への疾患啓発と教育
- 検査・診断技法（血清C4測定、C1インヒビター活性測定）の確立
- HAEの診療中核拠点構築とフォローアップ体制の整備
- 現地版HAE診療ガイドライン策定
- 新規治療薬の販売承認取得、保険収載、治療の均てん化による患者アウトカム改善

*HAE : Hereditary angioedema（遺伝性血管性浮腫）

1

武田薬品工業株式会社です。ベトナムにおける遺伝性血管性浮腫の診断方法の確立・治療の強化、ガイドライン策定の支援事業についてご報告いたします。

本事業へ応募するに至った背景は3つあります。①世界には約7,000種類の希少疾患が存在しその患者数は約4億人にもなると報告されており、国際的に希少疾患対策の重要性は高まっているものの、ベトナムを含む新興国での疾患の認知度は相対的に低いこと、②特に遺伝性血管性浮腫（以下HAE）という疾患は未診断のままに命に関わる可能性のある疾患であるにもかかわらずベトナムにおける診断率が顕著に低いこと、③本事業開始前からベトナム保健省は希少疾患の環境改善のための覚書を当社と締結しており、また現地のホーチミン喘息アレルギー臨床免疫学会もHAEの診療実態に課題を感じていたこと、これらの背景から本事業を開始するに至りました。

事業の目的は、ベトナム現地での疾患認知度の向上、検査・診断・治療の向上、診療中核拠点の構築、現地版HAE診療ガイドラインの作成等を通じた、HAEを取り巻く環境の改善です。

1年間の事業内容（2022年度）

5-6月	7月	8月	9月	10月	11月	12月	1月
現地学会との 契約締結	★7/11 Kick-off Meeting (Web) 現地医師 (17名)	☆8/29 ガイドライン/疾患 啓発/教育資材 タスクフォース Meeting① (Web) 現地医師 (18名)	★9/24 HAE Training Course (Web) 現地医師 (118名)	★10/27-29 HAE Master Class 実地研修 (日本) 現地医師 (5名)	☆11/29 ガイドライン/疾患 啓発/教育資材 タスクフォース Meeting② (Web) 現地医師 (19名)	★12/16 HAE Workshop (Web+ 現地対面) 現地医師 (132名)	★1/7 Review & Planning Meeting (Web+ 現地対面) 現地医師 (18名)
	★7/23 学会Annual Congress (Web+ 現地対面) 現地医師 (398名)			☆10/7 症例検討会① (Web) 現地医師 (5名)			☆1/16 症例検討会② (Web) 現地医師 (4名)

★：日本の専門医による研修
☆：現地医師のみの研修

3

1年間の事業内容です。今年度の活動は7月11日のKick-off Meetingからスタートしました。

7月と12月には日本の専門医と共にベトナム現地へ渡航し、会合での講義とディスカッションを行いました。9月にはWebで日本の専門医から講義をしていただき、10月にはベトナムから5名の医師を日本にお迎えして日本のHAE診療拠点での実地研修等を行いました。1月のReview & Planning Meetingでは今年度事業の振り返りと来年度の取り組みの検討を行いました。

また、8月から1月にかけては、ベトナム現地の医師のみで疾患啓発資材作成のための会議や症例検討会が複数回行われました。

2022年7月 Kick-off meeting (web)、学会年次集会 (ベトナム現地)



4

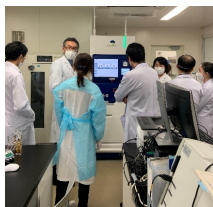
まず、7月の Kick-off Meeting とベトナム現地訪問の様子はこちらです。

Kick-off Meeting は Web で行い、現地医師 17 名と武田薬品社員 9 名が参加しました。事業初年度である 2021 年度の終わりに確認した今後の方針を元に、本事業の目標と今年度の具体的な活動を確認しました。

また、7月23日の現地学会（本事業のパートナーであるホーチミン喘息アレルギー臨床免疫学会）の年次集会に合わせて初のベトナム渡航が実現しました。集会には千葉大学腎臓内科の本田大介先生が招聘され、「Current guidelines and practice in the diagnosis and treatment of HAE in Japan」というタイトルで日本の HAE 診療ガイドラインや実臨床を踏まえた講義をしていただきました。会場と Web を合わせて 398 名の現地医師が参加され、今年度で最も参加人数の多い研修となりました。この前後にはホーチミン医科薬科大学を訪問・見学し、学会員の医師とベトナムの HAE 診療の現状についてディスカッションする機会も設けることができました。

2022年10月 日本での実地研修

10/27(木)	09:00-09:30	広島大学皮膚科医局集合、自己紹介など	
	09:30-11:00	A.皮膚科外来見学 【田中暁生先生、森桶聡先生】	B.皮膚科病棟/救急見学 【沼田智史先生、大木伸吾先生】
	11:00-12:30	A.皮膚科病棟/救急見学 【沼田智史先生、大木伸吾先生】	B.皮膚科外来見学 【田中暁生先生、森桶聡先生】
	14:00-15:00	検査部見学【中川浩美先生】	
	17:15-18:15	広島市民病院 院長 秀道広先生 講義+ディスカッション	
10/28(金)	09:00-10:30	皮膚科外来見学【高萩俊輔先生】	
	10:30-12:00	講義/症例検討【田中暁生先生】	
10/29(土)	15:00-16:30	HAEJ(患者団体)代表 山本ベバリーアンさん講義+ディスカッション	



5

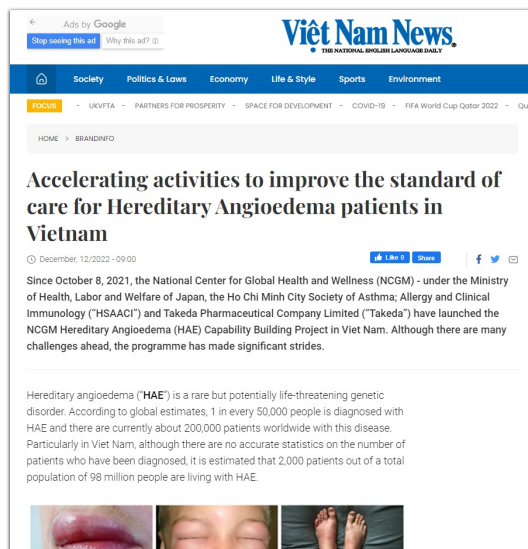
こちらは、10月に行った日本での3日間の実地研修の内容です。現地学会が推薦した現地の専門医5名と武田ベトナムの社員2名が来日しました。

ベトナムでのHAE診療拠点構築という目標に向けて、日本の診療拠点である広島大学皮膚科の田中暁生先生のもとで研修を実施させていただきました。研修内容は、主に皮膚科外来、皮膚科病棟、救急集中治療科、検査部の見学と、田中先生との症例検討会となりました。皮膚科外来見学では、実際のHAE患者さんの診察に同席させていただき、ベトナム医師と日本人HAE患者さんのディスカッションも実現することができました。

病院研修以外には、広島市民病院 院長の秀道広先生に“Clinical practice for diagnosis, decision-making, and personalized care”というタイトルでのご講義とディスカッションの機会を設けていただきました。また、HAEJ(日本のHAE患者団体)代表の山本ベバリーアンさんには“Living and Working as an HAE patient”というタイトルでのご講義と意見交換のお時間をいただきました。

どの研修プログラムにおいても時間が足りないほど、ベトナム医師たちから多数の意見や質問があり、参加医師の研修受講意欲の高さが伺えました。これらの貴重な学びから、現地でのHAE診療拠点構築とHAE患者団体設立の準備に拍車がかかりました。

2022年12月 ベトナム現地のメディア記事



Assoc. Prof. PhD. Le Thi Tuyet Lan, Chairman of HSAACI, makes a presentation on rare diseases at the recent scientific conference



Overview of the Scientific Conference 2022 themed "Research and application in medicine" with the topic of the rare disease held recently in Hanoi

Assoc. Prof. PhD. Le Thi Tuyet Lan is concerned that, currently, there is no specific treatment available for HAE patients in Viet Nam. *"At this scientific conference, we have respectfully asked the Drug Administration of Vietnam to prioritise the issuance of import licenses and the registration of drugs treating rare diseases, especially medicines treating life-threatening diseases that do not have effective treatment in Viet Nam. With that, rare disease patients will have the opportunity to access innovative drugs earlier,"* said Assoc. Prof. PhD. Le Thi Tuyet Lan.

(Viet Nam News記事より引用)

6

また、昨年度は本事業について12以上のメディアに掲載されましたが、今年度も現地の4つのメディアに掲載されました。写真は、NCGMや厚生労働省、武田薬品の名前とともに掲載された、11月の現地学会の年次会合（ベトナム保健省職員も参加）の様です。本事業のパートナーである現地学会の学会長 Assoc. Prof. PhD. Le Thi Tuyet Lan 先生が、本事業の成果の発表と共に、現在ベトナムのHAE患者さんに利用できる特定の治療法がないことを懸念しているとして、「私たちはベトナム医薬品当局に対し、希少疾患を治療する医薬品、特にベトナムでは効果的な治療法がない生命を脅かす疾患を治療する医薬品の輸入ライセンスの発行と登録を優先するよう丁重に依頼しました」と述べられたことが記載されています。

(Viet Nam News 記事より引用・和訳：<https://vietnamnews.vn/brandinfo/1403659/accelerating-activities-to-improve-the-standard-of-care-for-hereditary-angioedema-patients-in-vietnam.html>)

今年度の成果指標とその結果

	アウトプット指標	アウトカム指標	インパクト指標
実施前の計画	1) 教育研修 ・各回、現地医師50名参加 ・理解度について、講義後のテストで70%正答率（日本での同様の取組を参考に目標値は変更可能性あり） ・複数の施設（5施設）から症例を持ち寄って実際の症例検討 2) HAE診療ガイドライン策定/疾患啓発資料作成の支援 ・現地医師15名参加 ・教育研修内容をもとにHAE診療ガイドラインのアウトライン作成と、患者用、医療従事者用2つの資料作成を行う 3) 診療拠点構築の支援 ・教育研修内容をもとに、2拠点の診療拠点構築の検討を進める	1) HAEの診断率を2021年度4%から2022年度に10%まで改善する 2) HAE診療ガイドラインのアウトライン/疾患啓発資料作成が完成する 3) 2拠点の診療拠点構築の目処が立つ	1) 現地版ガイドラインの策定と普及（2021年度に現地版ガイドライン策定の検討開始） ・2022年度中に、ガイドラインのアウトラインを完成 ・2023年度中に、ガイドライン策定完了 ・2024年度以降に普及開始 2) 診療拠点の構築 ・Hanoi, HCMC : 2023年度 ・Da Nang, Hai Phong, Can Tho, Nghe An : 2024年度 3) 新規治療薬の製造販売承認取得/医療アクセスの確立 ・急性発作治療薬：2022年申請・2025年承認取得に向けて準備を進める。 ・新規薬剤の承認取得まで時間を要するため、より早く届けるべく薬剤の早期無償提供プログラム（2023年以降）も併せて検討する（本事業対象外の取り組み）
実施後の結果	1) 教育研修 ・各回、現地医師100名以上の参加 ・理解度について、クイズの正答率は1問目100%、2問目92.86%、3問目96.88% ・2回の症例検討会にて、4施設から症例発表 2) HAE診療ガイドライン策定/疾患啓発資料作成の支援 ・18名の医師でガイドラインを作成し、日本のKOLが監修 ・18名の医師が市民向けの疾患啓発資料と患者向けの疾患教育資料の2種類を作成 3) 診療拠点構築の支援 ・広島大学病院での病院研修は5名の医師が参加 ・3拠点の診療拠点構築の検討開始	1) HAEの診断率を2021年度4%から2022年度に10%まで改善する ⇒教育研修と本事業外のfree testing program（武田薬品負担のHAE検査無償提供プログラム）により、8名の確定診断（計画時の診断率4%はすべて仮診断であったため、今回初めて確定診断に至った） 2) HAE診療ガイドラインのアウトライン/疾患啓発資料作成が完成する ⇒ガイドライン（医療従事者用の教育資料にもなる）のドラフトが完成、市民用/患者用の2つの教育資料が完成 3) 2拠点の診療拠点構築の目処が立つ ⇒HCMC Medical Univ, E Hospital, Can Tho Medical Univの3拠点構築の目処が立った	1) 現地版ガイドラインの策定と普及 ・2022年度に概ね完成し、2023年度から普及開始に前倒し 2) 診療拠点の構築 下記のスケジュールで進行中 ・Hanoi, HCMC, Can Tho : 2023年度見込み ・Da Nang, Hai Phong, Nghe An : 2024年度以降見込み 3) 新規治療薬の製造販売承認取得/医療アクセスの確立 ・急性発作治療薬：2022年に特別輸入許可申請済であり、2023年許可取得に向けて準備を進めている ・許可取得後、薬事承認（2025年予定）と保険償還（2028年以降見込み）を待たずに武田薬品負担で無償提供プログラムを実施予定

今年度の成果指標とその結果です。

アウトプット指標について、概ね計画を達成することができました。特に教育研修に参加する医師数は大幅に増え、内容の理解度についても良い結果が得られました。

アウトカム指標について、計画時の診断率4%の数字は確定診断の手段のないベトナムにおいて仮の数字であったため、診断率とその目標については今後再検討が必要ですが、本年度の事業を通じてベトナムで初となる8例の患者さんに確定診断を付けることができました。現地版HAE診療ガイドラインはドラフトを完成させ、疾患啓発/患者向け教育資料についても完成させることができました。

インパクト指標については、ガイドラインの策定と診療拠点の構築は目標を前倒しで進めることができ、新規治療薬についても特別輸入許可申請が完了しました。

今年度の対象国への事業インパクト

医療技術・機器の国際展開における事業インパクト

- 本事業を通じて、ホーチミン喘息アレルギー臨床免疫学会がベトナム初となるHAE診療ガイドラインを策定した。当社とベトナム保健省および学会との間で協力覚書を締結して事業を進めているため、このガイドラインが将来的に国のHAE診療ガイドラインに繋がるものとする。
- 疾患認知度、検査、診断、治療、医師間連携、診療拠点構築、新規治療薬の導入準備など、HAEに関する全般的な環境改善につながった。

健康向上における事業インパクト

- 事業で育成した保健医療従事者（延べ数）
 - ・ 日本で研修（講義・実習等）を受けた研修員の合計数：5名
 - ・ 対象国で研修（講義・実習等）を受けた研修員の合計数：648名
 - ・ 研修（講義・実習等）を受けた研修員の合計数：653名
 - ・ 過去に研修を受けて講師・専門家となった現地の講師・専門家の合計数：23名

8

今年度の対象国への事業インパクトについてです。

医療技術の国際展開におけるインパクトについて、当社とベトナム保健省およびホーチミン喘息アレルギー臨床免疫学会との間の協力覚書をもとに、HAEの環境改善に官民連携で取り組む関係構築が進んだことが、将来の事業インパクトに繋がる重要な要素になっていると考えます。この連携基盤をもとに、HAEに関する疾患認知度、検査、診断、治療、医師間連携、診療拠点構築、新規治療薬の導入準備など、HAEを取り巻く全般的な医療水準の向上に取り組めます。学会としてベトナム初のHAE診療ガイドラインのドラフトを策定できたので、これが将来的に国のHAE診療ガイドラインに繋がるであろうことも大きなインパクトとなると考えます。

健康向上に寄与する事業インパクトとしては、日本の専門医による3度の講義と日本での実地研修を通じて延べ653名の医師に教育研修を実施することができました。

これまでの成果

2021～2022年度の成果

- 現地の課題を明確化することができ、その課題に沿った研修を実施することができた。全ての会議や研修に現地学会長と基幹病院の多くの医師が参加した。
- 現地の医師たちが、HAEに関する①疾患啓発、②検査、③診断・治療、④医師間連携、⑤診療拠点の構築など、5つのグループを作り、自主的にHAEの環境改善に取り組む体制ができあがった。
- ベトナムで初となる8例の確定診断がついた。
- ベトナム初のHAE診療ガイドラインのドラフト版、疾患啓発/患者向け教育資材が完成した。
- 昨年に引き続き、今年度も現地のメディアに本事業が取り上げられたことから、医療関係者や一般市民への本事業とHAEの認知度向上も進んだと考える。

今後の課題

- HAEの確定診断が付けられるようになった背景には100例上限の武田薬品負担のHAE検査無償提供プログラムがあり、これが無くとも継続して確定診断に必要な検査が行われる状態を確立したいと考えている。現状では、現地の検査会社にHAEの検査マーカー測定機能がないため、現地の検査会社も巻き込んだ検査体制の構築を検討する。
- 確定診断が付けられるようになったことで、診断後に処方できる有効な治療薬が現状無いという課題意識が強くなった。確定診断の例数を増やし、治療を必要とする患者さんが多くいることをベトナム保健省に示すことで、治療薬（急性発作治療薬、急性発作発症抑制薬）の特別輸入許可承認や早期の薬事承認・保険償還に繋げていきたい。

9

今年度の成果と課題について紹介いたします。

まず、2年間の成果について、現地の課題やニーズに合った研修を実施できたことで、ベトナムの多くの医師が研修に参加され、日本人専門医による講義や活発なディスカッションを通じて参加医師の意識の変化や理解の促進がみられました。現地の医師たちが、HAEに関する①疾患啓発、②検査、③診断・治療、④医師間連携、⑤診療拠点の構築など、5つのグループを作り、自主的にHAEの環境改善に取り組む体制ができあがりました。

また、最大の成果はベトナムで初となる8例の確定診断がついたことです。これまでの教育研修と事業外のfree testing program(武田薬品負担のHAE検査無償提供プログラム)による成果であり、今後も確定診断される患者さん増えていく見込みです。いずれ国のガイドラインとなるであろうベトナム初のHAE診療ガイドラインのドラフト版や疾患啓発/患者向け教育資材が完成したことも大きな成果です。現地のメディアに取り上げられたことから、医療関係者や一般市民への本事業とHAEの認知度向上や日本からの国際貢献の認知度向上が進んだことも成果であると考えます。

今後の課題としては大きく2点です。1つ目は、患者さんの確定診断が付けられるようになった背景には100例上限の武田薬品負担のHAE検査無償提供プログラムがあり、これが無くとも継続して確定診断に必要な検査が行われる状態を確立する必要があります。現状では現地の検査会社にHAEの検査マーカーを測定する機能がないため、その機能を新たに導入するなど現地の検査会社を巻き込んだ検査体制の構築について継続して検討します。2つ目は、確定診断が付けられるようになったことで、診断後に処方できる有効な治療薬が現状無いという課題意識が強くなりました。確定診断の例数を増やし、HAEの治療を必要とする患者さんが多くいることをベトナム保健省に示すことで、治療薬（急性発作治療薬、急性発作発症抑制薬）の特別輸入許可承認や早期の薬事承認・保険償還に繋げていきたいと考えています。

将来の事業計画**【2023年度の事業計画】****教育研修（検査・診断・治療）**

- HAE全般の知識の習得を目指した日本の専門医による講義。疾患、検査、診断、治療、フォローアップ、医療機関連携、周辺疾患情報などカバーすべき範囲が広いとため、複数回実施する。

HAE診療ガイドラインの策定と普及の支援

- 2022年度に現地で作成したガイドラインを普及するため、日本の専門医と現地の専門医の協力のもと5つの都市で地域ごとに研修を行う。

診療拠点構築とフォローアップ体制の整備の支援

- 診療拠点に必要な機能・条件等について日本の医師から助言。
- ベトナム医師8名を日本に招待し実地研修。

疾患啓発の支援

- 現地で作成する疾患啓発・医療従事者教育資材や媒体について（医師向け、患者向け）日本の専門医が監修。

【将来の波及効果】

- 本事業終了後もベトナム側が自立してHAE診療の環境整備に取り組める体制を整える。今年度は現地学会の主導で、現地の医師のみで課題ごとにワーキンググループを組み、資材作成の会議や症例検討会が複数回行われた。
- HAEの新薬（急性発作治療薬、急性発作発症抑制薬）が承認後に適正使用され、ベトナムにおいても先進国と同様の治療薬・予防薬にアクセス可能な環境を築く。
- 中長期的には、他の希少疾患や他地域への横展開の必要性を日本/アジアの関係者に発信し、日本を中心としたアジアのHAE/希少疾患治療のエコシステムを創出する。

10

最後に、将来の事業計画について紹介いたします。

年度については主に4つのテーマを計画しています。今年度と同様にHAEの検査・診断・治療等の教育研修は継続する必要があり、加えて、現地版HAE診療ガイドラインの策定と普及支援、診療中核拠点の構築支援、疾患啓発の支援を行う予定です。

その先の将来の波及効果については、本事業終了後もベトナム側が自立してHAE診療の環境整備に取り組める体制を整えること、HAEの新薬へのアクセスを可能とすること、他の希少疾患やベトナム以外の他地域へも展開することを検討しています。事業終了後には本事業の論文化を検討しており、他国での疾患啓発や診療体制構築のための活動の基礎情報として普及していく予定です。

本事業を通じてベトナムの希少疾患、特にHAEに関する医療水準の向上に貢献し、日本とベトナムの相互利益に繋げていきたいと考えております。

今年度の実施にあたりましては、厚生労働省、NCGM、在ベトナム日本国大使館、在ホーチミン日本国総領事館、JETRO ホーチミン事務所、JETRO ハノイ事務所、ならびに千葉大学の本田大介先生、広島大学の田中暁生先生、広島市民病院の秀道広先生、HAEJの山本ベバリーアンさんをはじめとする多くの関係者の皆様のご支援をいただきました。

この場をお借りして深く感謝申し上げます。

（武田薬品工業株式会社 医療政策・ペイシェントアクセス統括部 渉外 今井亮翔 本多由里絵）