武田薬品工業株式会社

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、

3年目

ガイドライン策定の支援事業 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4億人にものぼ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名にものぼる。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)

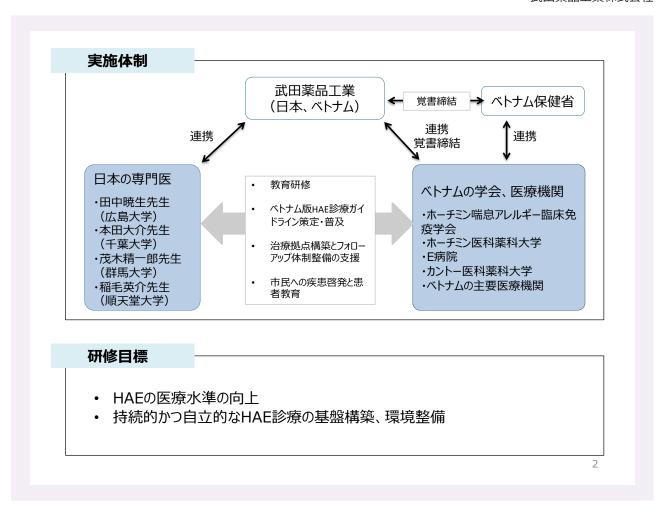
1

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4億人にものぼ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だと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(以下現地学会)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。

武田薬品工業株式会社



本事業の実施体制です。当社内で日本拠点とベトナム拠点で連携するとともに、ベトナム保健省及び現地学会との協力覚書をもとに、ベトナム現地での事業遂行体制を整えました。また、日本の専門医の先生方から協力をいただくことで、日越間の教育・研修体制を構築しました。

研修目標については、HAE の医療水準の向上と、将来にわたる持続的かつ自立的な HAE 診療の基盤構築、環境整備のために、 現地の課題を特定した上で解決策を立案することとしました。

武田薬品工業株式会社

1年間の事業内容(2023年度)

2023年 5月	6月	7月	9月	10月	11月	12月	2024年 1月
現地学会との契約締結	6/19 Kick-off Meeting (Web) 現地医師 (17名)	★7/29 学会Annual Congress (現地ビデオ 上映) 現地医師 (995名)	☆9/29 ガイドライン普及 研修(現地対 面) 現地医師 (100名)	☆10/5 ガイドライン普及 研修(現地対面) 現地医師 (103名) ☆10/11 症例検討会① (Web) 現地医師 (57名)	★11/20-24 HAE Master Class (日本実地研 修) 現地医師 (5名)	HAE Workshop (Web+	1/5 D Review Meeting (Web+ 現地対面) 現地医師 (18名) ☆1/9 症例検討会② (Web) 現地医師 (49名)

★:日本の専門医による研修 ☆:現地医師のみの研修

3

2023 年度の事業内容です。今年度の活動は 6月の Kick-off Meeting からスタートしました。

その後7月に、ベトナムで開催された現地学会の年次総会で日本の医師による講演ビデオの上映を皮切りに、9月、10月には本事業の1年目、2年目で育成された現地医師によるベトナム版 HAE 診療ガイドラインの普及研修、そして11月にはベトナムから5名の医師を日本へお迎えし、日本の医療機関での実地研修等を行いました。

また 12 月には、日本の医師と共にベトナムへ渡航し、講義に加えて診療上の疑問など聴講者からの質疑応答を行うとともに、 今年度新たに作成した患者向け・市民向けリーフレットとビデオのお披露目も行いました。

このような対面を中心とした活動に加え、10月と1月には現地医師のみでオンラインでの症例検討会も2度開催しました。

1月の Review Meeting ではベトナムへ渡航し、今年度の成果と残された課題を整理したうえで、来年度に向けた取り組みについて現地医師と検討を行いました。

武田薬品工業株式会社

2023年 6月 Kick-off meeting (web) 2023年12月 HAE Workshop (ベトナム現地) 2024年 1月 Review meeting (ベトナム現地)











4

まず、6月の Kick-off Meeting が右下の写真です。

Kick-off Meeting は Web で行い、現地医師及び日越両国の当社社員が参加しました。はじめに過去 2 年間の事業の進捗について振り返りを行った後、2023 年度の目標と具体的な活動内容について確認しました。

左3枚の写真は12月にベトナムで開催したHAE Workshopの様子です。冒頭、現地学会のLan 学会長よりオープニングスピーチがあり、繰り返しNCGMと武田薬品に感謝の言葉をいただくと共に、いまだHAE の診断を受けていない残された99%の潜在的HAE 患者さんを診断・治療に結び付けたいという力強いメッセージをいただきました。その後、武田薬品の本事業担当者より、2年半の歩みを紹介しました。会の後半は、広島大学皮膚科教授田中暁生先生からはHAE の診断と治療についての講演を、ホーチミン医科薬科大学Lam 先生からは本事業を通じて作成したベトナム版 HAE ガイドラインについての講演をいただきました。なお、本 Workshop は日越外交関係樹立50周年事業に認定されています。

右上の写真は 1 月の Review meeting の写真です。手に持っているのは本事業を通じて作成したベトナム版 HAE ガイドラインと患者・市民向けリーフレットです。3 年間の成果と残された課題について現地の医師と時間をかけて話し合い、2024 年度は今なお HAE に苦しまれている潜在的な患者さんを診断・治療へつなげるため、これらのガイドラインやリーフレットを活用してベトナム全土へより広く診療医や診療拠点を作っていくことを確認しました。

武田薬品工業株式会社

2023年11月 Master Class (日本での研修)

11/20 (月) 10:00-15:00		武田薬品グローバル本社での研修		
	09:00-09:30	群馬大学大学院皮膚科学医局集合、自己紹介等		
44 (24 (44)	09:30-10:30	皮膚科外来見学		
11/21(火)	10:30-11:30	皮膚科病棟見学・研究室見学		
	13:00-15:00	組織会見学		
	09:30-10:30	皮膚科手術室見学		
11/22 (水)	10:30-11:30	皮膚科教授茂木精一郎先生レクチャー		
	16:30-18:00	順天堂大学医学部附属順天堂医院小児科 稲毛英介先生レクチャー		









こちらは、11 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医師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群馬大学大学院医学系研究科皮膚科学 教授 茂木精一郎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、主に皮膚科の外来、病棟、研究室、組織会、手術室の見学と、茂木先生による HAE に関するレクチャーです。外来見学では、実際の診療に同席させていただいたり、組織会では同皮膚科の西尾麻由先生に協力いただき、多様な皮膚科疾患についての症例検討にも参加させていただくことができました。

また、群馬大学での研修後、順天堂大学医学部附属順天堂医院 小児科 助教 稲毛英介先生より、小児の HAE についてご講義をいただき、ベトナムでも診断例数が増えつつある小児 HAE についての理解を深めることができました。

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。また、今年度は本事業3年目となりますが、年度を追うごとにベトナム医師のHAEに対する経験や知識が飛躍的に向上していることが感じられました。

武田薬品工業株式会社



過去2年に続き、今年度も本事業が多くのメディアに取り上げられております。ここではその一部を紹介します。

左の写真は、日越外交関係樹立 50 周年を記念してベトナム外務省が発行した The World & Vietnam Report という政府発行誌への掲載記事です。日越両国のパートナーシップに関する特集記事が組まれ、本事業がその一つとして選ばれました。記事は日越両言語で記載されており、オンラインだけでなく、紙の冊子でも発行され、ベトナム企業や日越政府関係者に加え、2024 年度に行われる両国イベントで使用されるとのことです。また日越間のベトナムエアラインの機内でも紹介される予定です。

右上は、ホーチミン市を中心に発行され、ベトナム国内で最も多く発行されている日刊新聞の一つである Tuoi Tre 新聞に掲載された記事からの抜粋です。

右下は、現地学会のウェブページで、本事業を通じた各種研修が開催される度に現地学会の先生方が活動内容を掲載してくださいました。

その他、今年度作成した市民向け疾患啓発ビデオが YouTube などのオンラインチャネルで発信されています。

これら複数のメディアやチャネルを通じて本取り組みが発信されることが、いまだ診断につながっていない潜在的な HAE 患者さんの早期発見につながることを期待しています。実際、本事業に関する記事を見た患者さんが本事業を通じて育成された診療医を受診し、確定診断につながったケースも出てきています。

武田薬品工業株式会社

	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 ・5回で現地医師合計530名の参加 ・講義後の理解度テストで80%正答率 ・複数施設からの症例検討(目標5症例)	1) 2)教育研修とガイドラインの普及を受けて、HAEの新規確定診断15例(2022年度は12例) 3) 日本での研修を受けて、3拠点のCoE	1. CoE構築と診療フォローアップ体制の発展 ・ホーチミン、ハノイ、カントーの3施設を中心に検査・調から治療の体制構築 2. 現地版HAEガイドライン普及とアップデート
	2) HAE診療ガイドライン普及研修 ・5都市で現地医師280名の参加予定 ・講義後の理解度確認テストで80%正答率	(ホーチミン医科薬科大、E病院、カントー 医科薬科大)の体制(医師、診療部門など)構築	・2023年度初期にガイドライン策定を完了させ夏頃 ら普及を開始 ・2024年度以降は数年置きにアップデートし、英語版・ 作成
	3) HAE中核拠点 (Center of Excellence: CoE) 構築支援 ・現地医師8名参加 ・3拠点のCoEが2023年度から稼働可能 4)市民への疾患啓発/患者教育 ・市民への疾患啓発と患者への疾患教育コンテンツを81つ作成・リリース ・日越外交関係樹立50周年事業の活用	4) 市民疾患啓発において、約100名の市民にリーチ。患者疾患管理教育において、 患者とその家族の合計約30名にリーチ	3. 新規治療薬の薬事承認取得/医療アクセス確立・急性発作治療薬: 2023年特別輸入許可取得にけて準備中。許可取得後、薬事承認(2025年元)と保険償還(2028年以降見込み)を待たず、武田薬品負担生無償提供プログラムを実施。・急性発作発症抑制薬: 2023年薬事承認申請、意取現得(2025年)、保険償還(2028年以降見込み)に向けて準備
実施後の結果	1)教育研修 ・4回で現地医師合計1,246名の参加 ・受験者全員80%以上正答率 ・複数施設から計4例の症例検討 2) HAE診療ガイドライン普及研修 ・2都市で現地医師203名の参加 ・1)教育研修とまとめて実施 3) HAE中核拠点 ・現地医師5名参加 ・3拠点のCoEを構築 4)市民への疾患啓発/患者教育 ・計4種の資材を作成、リリース ・12月16日現地HAE Workshopが日越外交関係樹立50周年事業に認定 ・ベトナム外務省発行物に取り組み掲載	1) 2) 教育研修とガイドラインの普及を受けて、HAEの新規確定診断19例(2022年度からの累計) 3) 3拠点のCOEの体制構築のため、ホーチミン医科薬科大より3名、E病院より1名、カントー医科薬科大より1名が日本での研修に参加。目標通りホーチミン医科薬科大学、E病院、カントー医科薬科大にてCOE構築 4) 市民向けリーフレット150冊、患者向けリーフレット500冊発行。患者&市民向けビデオには150以上のアクセス	1. CoE構築と診療フォローアップ体制の発展 ・ホーチミン、ハノイ、カントーの3施設にて検査・診断から治療までの体制を構築 2. 現地版HAEガイドラインの普及とアップデート・ベトナム版ガイドラインの完成・9月29日にカントー、10月5日にタンホアにてガイドライン普及研修実施 3. 新規治療薬の薬事承認取得/医療アクセスの確立・急性発作治療薬:特別輸入許可を申請済、2023年度承認待ち。薬事承認と保険償還を待たずに武田薬品負担の無償提供プログラムを通じて現在3例の患者が治療薬投与を申請、ベトナム当局の承認待ち。・急性発作発症抑制薬:2022年薬事承認申請、承認取得(2025年)、保険償還(2029年)に向けて準備中

今年度の成果指標とその結果です。アウトプット指標、アウトカム指標、インパクト指標いずれの指標においても実施前の 計画を概ね達成することができました。

教育研修については計画の 2 倍を上回る延べ 1,200 名以上の医師が受講し、理解度確認テストにおいては受講者全員が目標以上のレベルを達成することができました。また、本事業を通じて作成したベトナム版 HAE 診療ガイドラインの普及研修については、スケジュール等の都合で 2 都市での開催となりましたが、1 都市あたりの参加者数は計画の 2 倍近くにのぼり、これらの取り組みの結果、計 19 例の HAE 新規確定診断につながっています。

HAE 中核拠点構築については、昨年度に続き 2023 年度もベトナムの主要医師をお招きし、日本の医療機関での実地研修を行ったことで、ホーチミン、ハノイ、カントーの 3 都市に HAE の中核拠点病院を構築することができました。

現地学会と共に、市民向け疾患啓発及び患者向け疾患教育資材を計4種作成し、12月にホーチミンで開催したHAE Workshopでお披露目をすることができました。これらの資材は医療機関への設置やWebページ上での公開を通じて広く活用が始まっています。

また、前述のとおり、これらの取り組みがベトナム政府発行誌 The World & Vietnam Report に本事業が取り上げられました。

現在、新規治療薬の薬事承認を待っている状況ですが、それを待たずして武田薬品負担の無償提供プログラムを通じて1日でも早く治療薬を必要とされている患者さんへ必要な薬剤を届けるべく、ベトナム当局へ特別輸入許可の申請を行っており、その承認が待たれます。

武田薬品工業株式会社

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

- 2022年度: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と日本の専門医 がベトナム初となるHAE診療ガイドラインを策定
- 2023年度(今年度事業): ガイドライン普及のための研修を2度行い、現地医師 203名が参加
- 2024年度:当社が協力覚書を締結している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協力し、本ガイドラインが国のガイドラインとなるよう事業を進めていく予定
- 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

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:15名
 - 対象国で研修(講義・実習等)を受けた研修員の合計数:1,449名
 - 研修(講義・実習等)を受けた研修員の合計数:1,464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:22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現地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んだことが、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、各種取り組みを通じて 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んできました。特に 2023 年度は、2022 年度に策定したベトナム版 HAE 診療ガイドラインをベトナム医師へ普及させるべく、新たにガイドライン普及研修をタンホアとカントーの 2 エリアで対面開催し、203 名の医師に参加いただくことができました。加えて、過去に本事業の研修を受けて講師・専門家となった現地医師も延べ 22 名となり、ベトナム医師のみでセミナーや症例検討会等を行えるようになってきたことで、結果として 2023 年度は過去最高の延べ 1,400 名を超える医師に研修を受講いただくことができました。

武田薬品工業株式会社

これまでの成果

2021~2023年度の成果

- 現地の課題に沿った21回の教育研修に延べ2,562名の現地医師が参加した。
- 現地の医師たちが、HAEに関する①教育研修、②疾患啓発、③検査・診断、④データベース、⑤治療薬への早期アクセスの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。
- HAE診療拠点病院が3か所でき、ベトナムで計19例のHAEの確定診断がついた。
- ベトナム初のHAE診療ガイドライン1種、疾患啓発/患者向け教育資材6種が完成した。
- 現地の複数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の認知度向上が進んだ。

今後の課題

- これまでの事業を通じて3か所のCoEを構築することができ、19例(対推定患者数1%未満)の確定診断が付いたものの、いまだHAEを診断できる医師は限定的であり、他の主要都市や医療機関でも診療医を育成し、医療機関同士の連携体制を構築する必要性がある。
- 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。治療を必要とする患者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・保険償還につなげていきたい。

9

今年度を含む過去3年間の成果と課題について紹介いたします。

現地の課題やニーズに合った研修を実施できたことに加え、累計 21 回の教育研修を行ったことで、延べ 2,562 名の医師が 研修に参加しました。その中で日本での実地研修へ参加された現地の HAE 診療中核医師を中心に、現地の医師たちが自主的に HAE に関する①教育研修、②疾患啓発、③検査・診断、④データベース、⑤治療薬への早期アクセスの 5 つのグループを作り、 HAE の環境改善に取り組む自立的な体制ができあがりました。医師への疾患啓発、疾患理解を通じてホーチミン、ハノイ、カントーの 3 エリアに HAE 診療拠点病院ができ、計 19 例の HAE 確定診断に結び付きました。また、ベトナム初の HAE 診療ガイドライン 1 種、市民向け疾患啓発・患者向け教育資材計 6 種を作成、活用し、これら一連の取り組みが現地の複数のメディアに取り上げられたことも HAE の認知度向上、ひいては確定診断数の向上につながっています。

今後の課題としては大きく 2 点あります。1 つは 3 年間の事業を通じてベトナム国内に 3 か所の HAE 中核拠点病院を構築することができた一方、わずか数人の医師で 19 例の確定診断を付けているのが現状であり、ベトナムに 2,000 名程度いると推定されている HAE 患者さんを診断・治療へと結びつけるためには、ダナンやタンホアなど他の中核都市においても診療医、診療拠点を構築する必要があります。

2つめは、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医師の中でより強くなりました。治療薬(急性発作治療薬、急性発作発症抑制薬)は現時点で承認されていませんが、治療を必要とする方々が多くいることをベトナム保健省に示すことで、早期承認につなげていきたいと考えています。

武田薬品工業株式会社

将来の事業計画

【2024年度の事業計画】

教育研修(検査·診断·治療)

• 日本の専門医及び本事業を通じて育成できた現地医師から教育研修を行うことで、新規CoE構築を目指すエリアや診療科から新たなHAE診療医を育成し、診断率の向上を目指す(指標:10例/年以上の新規確定診断)。

HAE診療ガイドライン普及

• 本事業を通じて作成したガイドラインをベトナム全土の医師へ普及させるため、ベトナム保健省と現地 医師を中心に、本ガイドラインを国のガイドラインへ位置付けるための検討を行う。

診療拠点構築と病院間ネットワーク構築

- 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するための本邦研修を行う。
- 本事業を通じて育成した医師と今後育成する医師の間で病院間ネットワークを構築する。 疾患啓発・患者教育
- 本事業を通じて作成した疾患啓発・患者教育資材を普及させ、疾患理解や早期診断につなげる。
- 患者会設立に向けての課題やアクションを明確にする。

【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、現地の医師のみで資材作成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。
- 本事業終了後に論文化を検討しており、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、2024年度の事業計画について紹介いたします。

2024 年度は主に 4 つのテーマを計画しています。これまでと同様 HAE の検査・診断・治療等の教育研修は継続する必要がありますが、ホーチミン、ハノイ、カントー以外の中核都市でも新たな HAE 拠点病院を構築することで、より多くの新規確定診断につなげたいと考えています。加えて、ベトナム現地版 HAE 診療ガイドラインをベトナム全土の医師へ普及させるため、ベトナム保健省と現地医師を中心に、本ガイドラインを国のガイドラインへ位置付けるための検討を開始する予定です。

診療拠点と病院間ネットワークの構築については、これまでに本事業を通じて育成した HAE 診療医と今後育成する診療医を日本の医療機関での実地研修に招くことで、新たな拠点の構築及びネットワークの形成を進める予定です。

更なる疾患啓発、患者教育については、これまでに作成した資材を様々なチャネルを活用して広く普及させ、HAE の疾患理解や早期診断につなげると共に、ベトナム初となる HAE 患者会の設立に向けての課題やアクションを明確にしていく予定です。本事業を通じてベトナムにおける HAE の医療水準向上に貢献し、日本とベトナムの相互利益につなげていくことに加え、事業終了後には本取り組みを論文化することで、他国や他の疾患領域への横展開を検討しています。

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、JTEROホーチミン事務所、JETROハノイ事務所、ならびに広島大学田中暁生先生、千葉大学本田大介先生、群馬大学茂木精一郎先生、順天堂大学稲毛英介先生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 加藤由紀)