

血友病の治療に関する アンケート調査結果

血友病患者様の凝固因子製剤に関する意識および治療実態調査



欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)
バイオリジクス委員会 血液製剤部会



はじめに

●EFPIA Japan (欧州製薬団体連合会)について

EFPIA Japanは2002年4月に設立され、日本で事業展開している欧州の革新的製薬企業を代表する団体であり、研究開発志向型の製薬企業25社が加盟しています。革新的な医薬品・ワクチンの早期導入を通じて、日本の医療と患者さんに貢献することをめざしています。6つの委員会(薬価・経済委員会、技術委員会、企業倫理委員会、知的財産・法務委員会、バイオリジクス委員会、広報委員会)を通じてその活動を展開し、製薬産業に関連する諸問題について検討、提案および啓発等を行っています。(ホームページ: <http://efpia.jp/>)

●血液製剤部会について

血液製剤部会は、ワクチン部会およびバイオ医薬品部会とともに、バイオリジクス委員会に属しています。血液製剤部会は、ヒト血液を原料とした他の医薬品では代替できない医療上必要不可欠な製剤(血漿分画製剤)と、世界の最先端技術で製造された血液関連遺伝子組み換え製剤が、将来にわたって日本の患者さんに安定的に供給できる体制の構築をめざしています。

調査の目的と方法

近年、血友病患者さんの治療に用いられる凝固因子製剤は感染症に対する安全性が高まり、血漿由来製剤に加えて遺伝子組換え製剤も広く普及してきました。また、凝固因子の補充療法は出血時治療に加えて定期補充療法が広まってきており、患者さんの生活の質が高まってまいりました。

EFPIA Japan (欧州製薬団体連合会)の血液製剤部会では、このような治療環境の変化の中で血友病患者さんの凝固因子製剤や治療法に対する意識や治療の実態を調査し、今後の活動に役立てたいと考えました。そのための一環として、今回のアンケート調査を実施することといたしました。

アンケート調査結果はご回答頂いた患者さん自身と他の患者さんの血友病治療に関する意識や情報の差を比較していただく事ができます。また、今回ご回答頂かなかった患者さんにとっても興味深い内容であると思いますので、患者さん同士の情報交換や勉強会でご活用いただければ幸いです。

アンケート調査は2014年8月1日から2015年3月31日の間に実施しました。当初は、一般社団法人ヘモフィリア友の会全国ネットワークのご協力を得て、当ネットワークのホームページにてWeb上で回答していただく形式で実施しましたが、より多くの回答を得るために、2015年1月からは書面で回答する形式も追加しました。

アンケート調査の依頼文は、Web回答、書面回答ともに、血液製剤部会に所属している製薬会社3社から医療機関の先生方を通じて配布しました。書面による回答用紙は、郵送により患者さんまたは患者さんのご家族から、EFPIA Japan事務局へ直接返送していただきました。なお、今回の調査は無記名で行い、個人が特定されるような情報は収集していません。



アンケート調査結果の概要

- (1) 112名(血友病A患者 82%、血友病B患者 17%)の血友病患者に関する回答が得られました。
- (2) 家庭輸注療法は89%の患者が実施していました。未実施の多かった九州地区では小児、東北地区では成人でした。
- (3) 出血時は早く注射をしているという回答が75%でしたが、一方で、60%の患者が主治医の指導を必ずしも守っておらず、20%の患者が使用量を抑制する傾向にありました。
- (4) 関節出血に対しては全体的に適切な量の凝固因子製剤が輸注されていました。
- (5) 87%で定期補充療法を実施していましたが、輸注量ならびに輸注頻度はガイドラインの推奨よりも少ない方がみられました。
- (6) 遺伝子組換え、血漿由来の各製剤問わず「安全性」と「安定供給」に関心度が高いことが示されました。
- (7) 製剤の薬価よりも「将来の自己負担」「医療費増大」への懸念が高いことがわかりました。

〈アンケート調査結果の詳細〉

1. 調査対象となった血友病患者の属性

アンケートに回答いただいたのは、全体で112人でした。このうち、患者さん本人による回答は66%、患者さんのご両親による回答が34%でした。

血友病のタイプは、全112人中82%が血友病A、17%が血友病Bでしたが、血友病のタイプが分からない(医師から聞かされていない、あるいは忘れた)人が1人いました。性別は、全112人が男性でした。

図1-1に示すように、幼少児から高齢者まで(0歳~69才)幅広い範囲からの患者さんの回答が得られました。学生を除く成人(23~50歳)が最も多く、36%を占めました。次に多かったのは51歳以上で24%でした。

患者さんの居住地は、図1-2のとおりでした。全国から回答が得られましたが、関東(37.5%)および近畿地区(24.1%)からの回答が多く、この2地区で過半数(62%)を占めました。

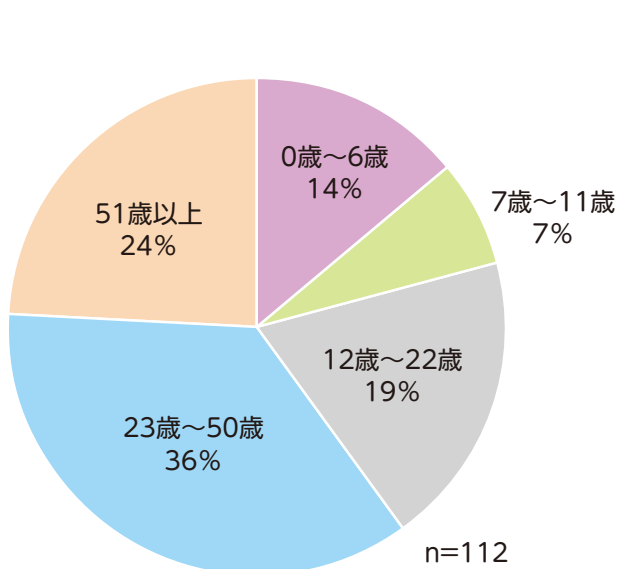


図1-1 患者さんの年齢の分布

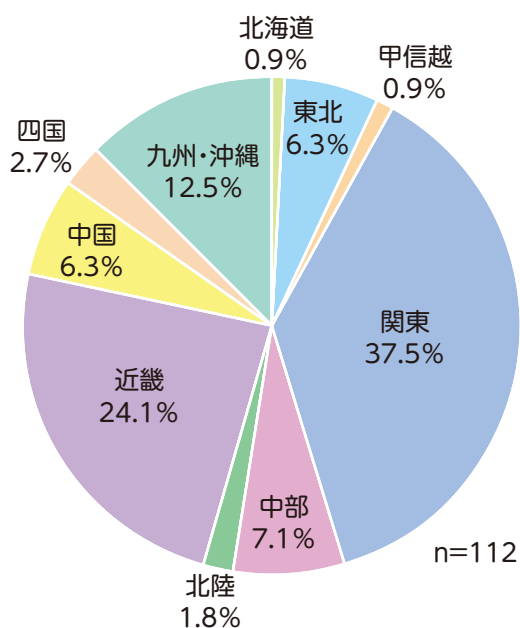


図1-2 患者さんの居住地

2. 家庭における治療について

1) 家庭輸注療法の実施

家庭輸注療法の実施状況を、患者さんの年齢別に見てみました(図2-1)。全体では89%の実施率でしたが、年齢別に見ると、7歳以上ではほとんどが家庭輸注療法を実施していました。6歳以下の幼少児では16人中7人で家庭輸注療法が行われていませんが、この7人はすべて3歳以下で家庭での注射が難しい患者でした。

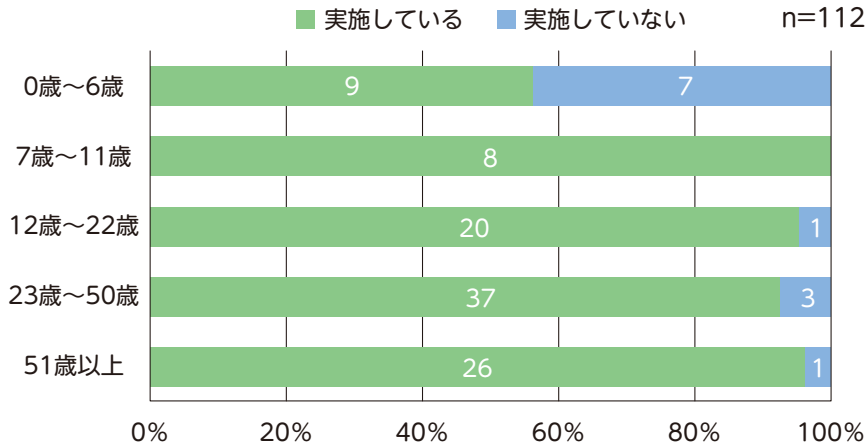


図2-1 年齢別の家庭輸注療法実施の有無

家庭輸注療法の実施状況を居住地域別に見ると、地域による違いがうかがえました(図2-2)。

ほとんどの地域で高い実施率でしたが、東北では7人中4例、沖縄を含む九州では14人中4例が家庭輸注療法を行っていませんでした。九州地域で家庭輸注療法を実施していなかった4名は、全員が3歳未満の患者さんであるために家庭での注射をしていないと考えられましたが、東北地域で家庭輸注療法を実施していなかった4名は全員が17～59歳の成人患者さんでした。東北地域は、専門医師がいる医療機関までの距離が遠い、あるいは交通手段の問題がある等、何らかの理由があるのかもしれませんが。

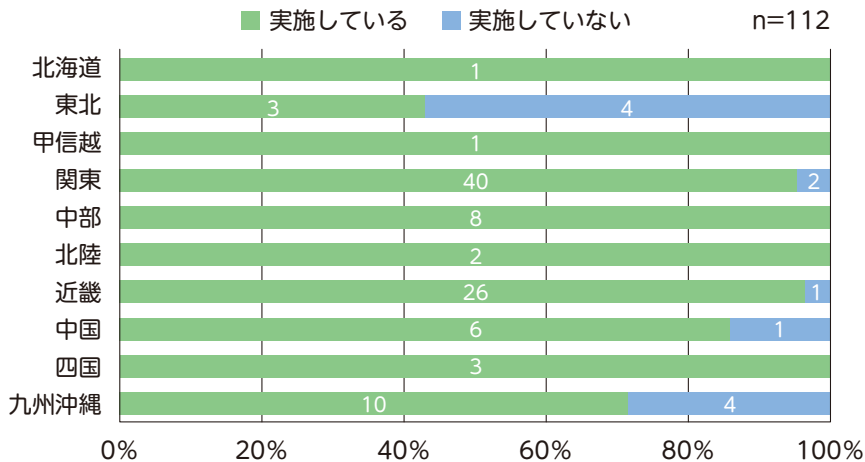


図2-2 居住地域別の家庭輸注療法実施の有無

家庭輸注療法の際、患者さんが何に注意しているかをいくつかの選択肢から回答者に選んでいただきました(複数回答あり)。その結果、「出血したらなるべく早く注射をしている」という回答が、血友病Aでも血友病Bでも75%を占め、出血後の早期治療の重要性が医療機関から患者さん・ご家族に正しく伝わっていることがうかがわれました。しかしながら、「主治医から指導された注射量(単位)や注射回数を守っている」と回答した人は、血友病Aでも血友病Bでも40%未満であり、主治医の指示通りに注射をしている患者さんは意外に少ないことが示されました。「なるべく少ない注射回数での止血を心掛けている」、または「なるべく少ない注射量(単位)での止血を心掛けている」と回答した人が合わせて約20%いたことから、薬剤の使用量(注射回数や単位数)を主治医の指示より低く抑えて注射していることがわかりました(図2-3)。

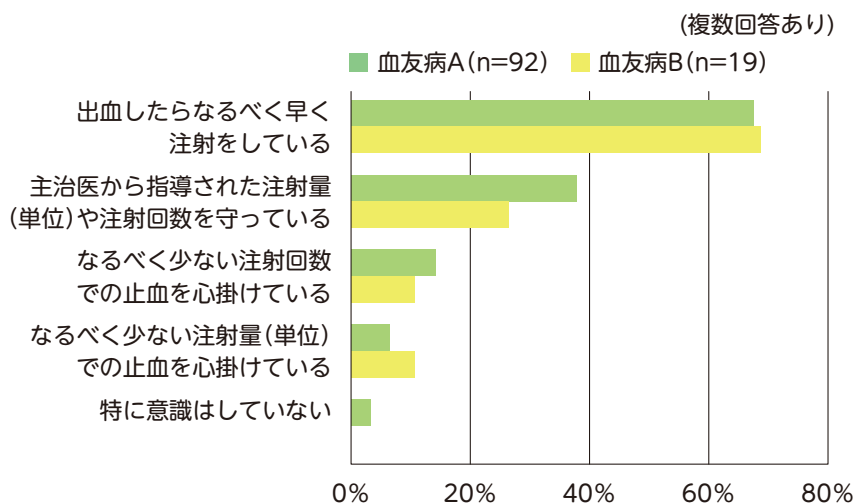


図2-3 家庭輸注の際に注意していること

2) 関節内出血時の薬剤使用量

次に、関節内出血の時に最初に注射する量(体重1 kgあたり)を見ると、血友病Aでは10~20単位/kg、20~30単位/kg、30~40単位/kgを投与している人が大半でした。日本血栓止血学会のガイドライン(以下、ガイドライン)では、血友病Aの関節内出血の治療には、軽度の場合で10~20単位/kg、重度の場合で20~40単位/kgの投与が推奨されていますが、今回の調査対象の患者さんの多くはこのガイドラインに則した適切な輸注量が使われていることがわかりました。血友病Bでも、同様に、患者の多くがガイドライン(軽度の場合で20~40単位/kg、重度の場合で40~80単位/kg)に則った適切な輸注量を使用していました(図2-4)。

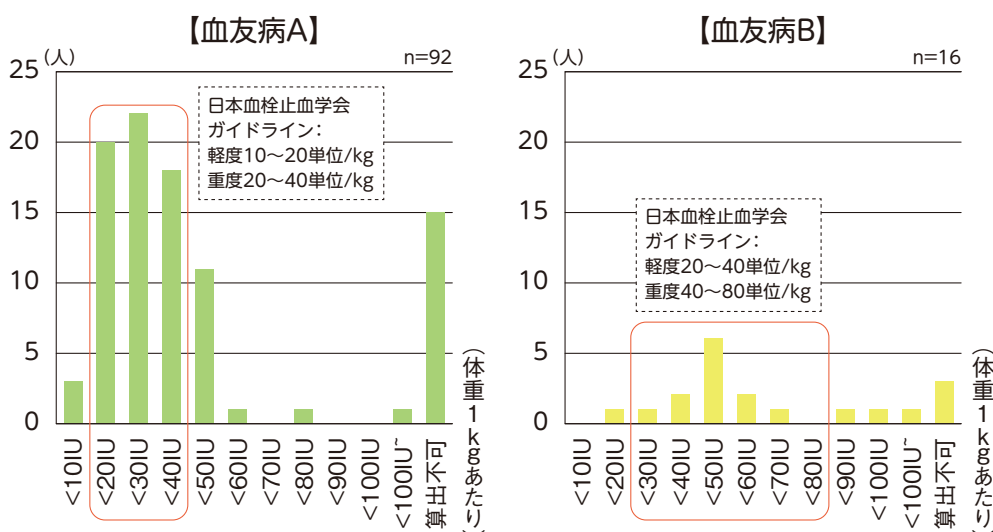


図2-4 関節内出血時の初回輸注量(体重1 kgあたり)

3. 定期補充療法

厚生労働省委託事業の全国血液凝固異常症調査平成25年度報告書では血友病患者さんの約50%が定期補充療法を実施しているという結果が報告されていますが、今回の調査の対象患者さんではいずれの年齢グループでも定期補充療法の実施率は85%以上と、全国調査より高い結果でした(図3-1)。

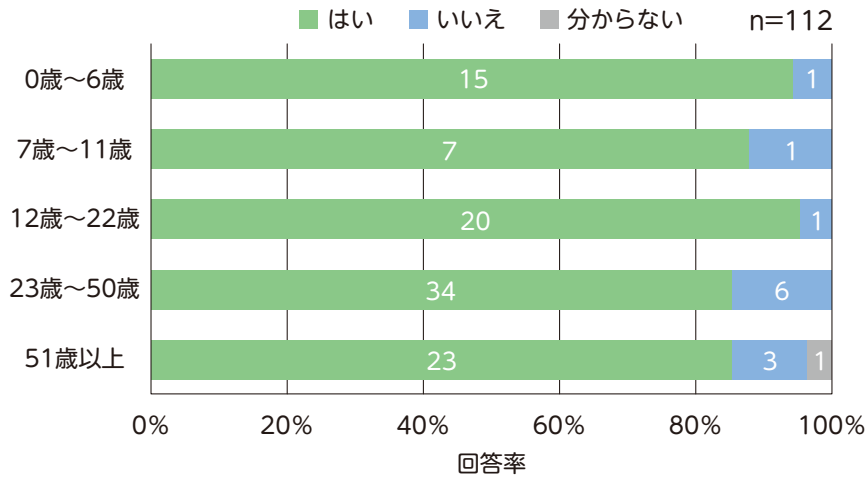


図3-1 年齢別の定期補充療法の実施状況

定期補充療法を行っていない13人(血友病A7人、血友病B4人、血友病型不明1人)に定期補充療法を行わない理由を回答していただきました(図3-2)。血友病Aの4人及び血友病Bの3人が「出血頻度が少ないから」と回答しました。「定期的に注射することが大変だから」と回答した人は3人(血友病A:2人、不明1人)で患者さん自身の判断でした。一方で「主治医から定期補充療法の勧めがない、あるいは説明がない」と回答した人が2人いることが分かりました。これは患者さん自身の判断ではなく医師の判断によるものですが、患者さんへの分かり易い情報提供の在り方について私たちは注目すべきと考えています。

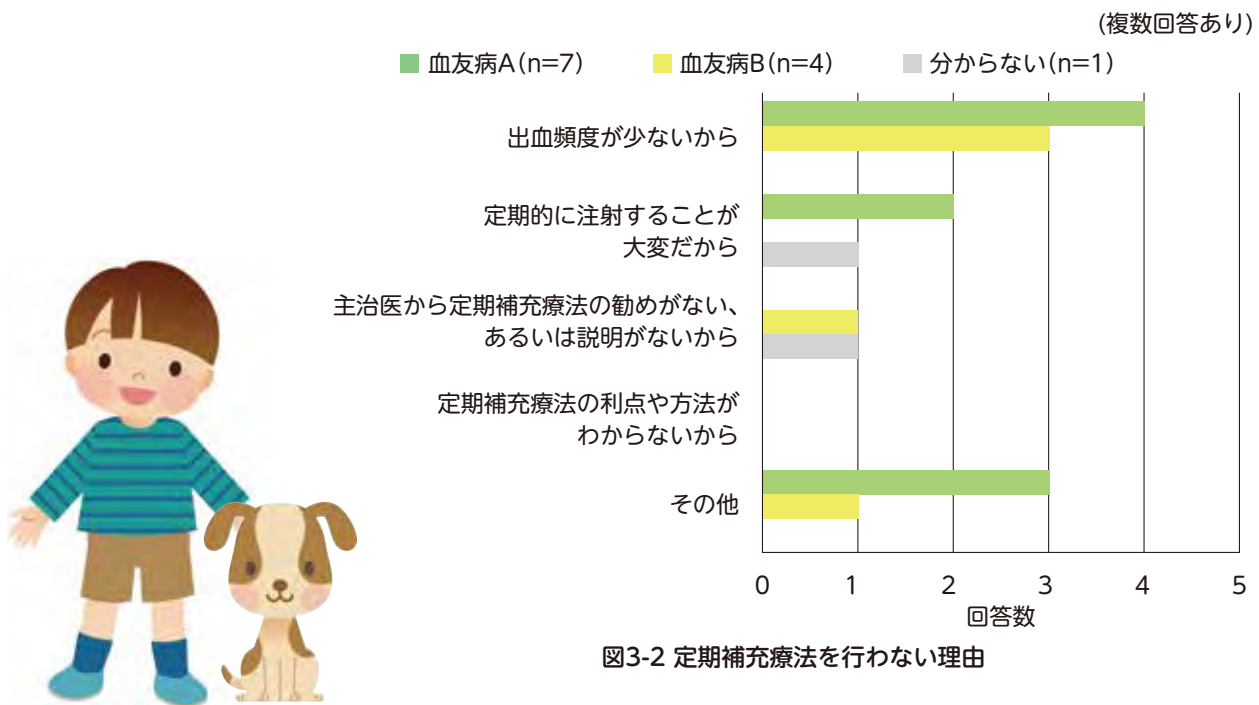


図3-2 定期補充療法を行わない理由

定期補充療法については、多くの患者さんが「関節保護のために普及すべき」であると考えているようです。また、「身体活動予定(スポーツ、遠足など)の前に注射することをもっと進めるべきだと思う」「小さい子供には積極的に普及させていくべきだと思う」と回答した患者も少なくありませんでした。「定期補充療法は製剤の使用量が増えるので望ましくないと思う」と回答した人はいませんでした。

一方、「出血頻度が高い場合などに限定するべきだと思う」という回答を選んだ患者さんもいたことから、私たちは医師と患者さんのコミュニケーションの在り方について注目しました(図3-3)。

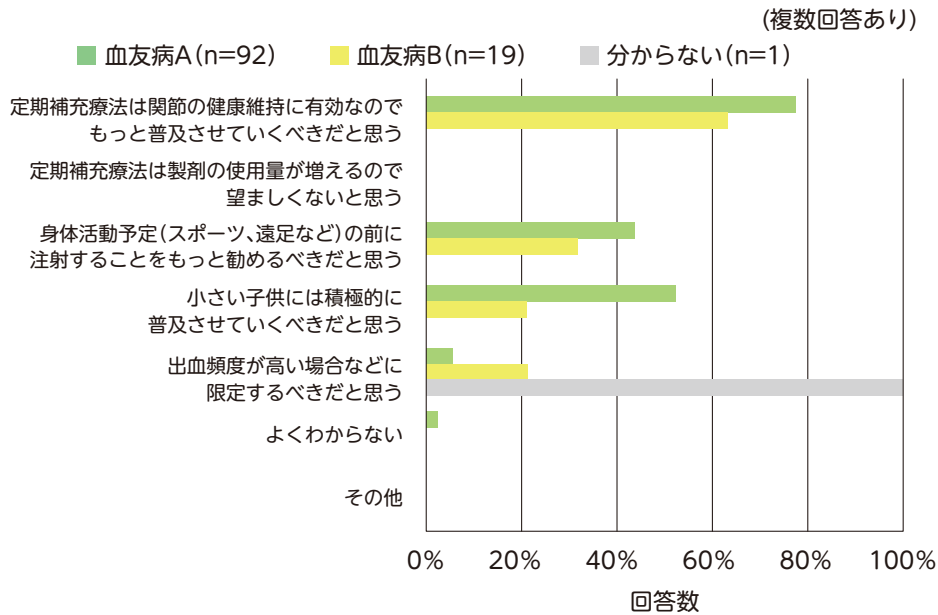


図3-3 定期補充療法のあり方について

定期補充療法時の輸注量

定期補充療法時の輸注量(体重1 kgあたり)は、ガイドラインでは血友病Aでは20~50単位/kg、血友病Bでは40~80単位/kg(遺伝子組換え製剤の場合)と推奨されています。今回の調査対象となった血友病A患者さんでは、多くがガイドラインで推奨されている投与量の範囲内で使用していましたが、22人(26%)もの患者がガイドラインの最低輸注量より少ない投与量を使用していました。血友病Bではガイドラインで推奨されている最低投与量未満であった患者は2名だけでした(図3-4)。私たちは関節内出血時の初回投与量についてはガイドライン通りに使用されていることを確認しましたが、定期補充療法時の輸注量はガイドライン推奨量より少ない投与量の患者が多い事が分かりました。私たちは、これが患者さん自身の節約志向か医師の指示か注目したいと考えています。

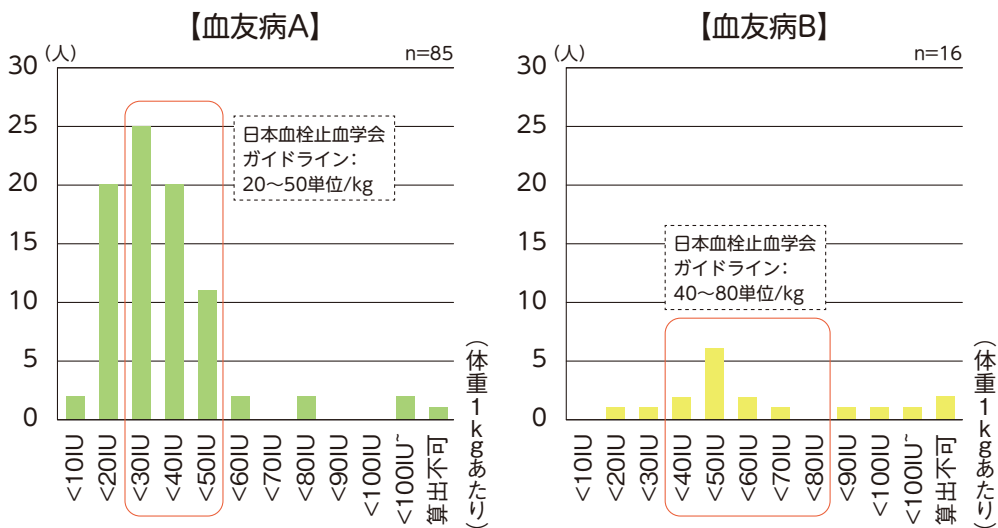
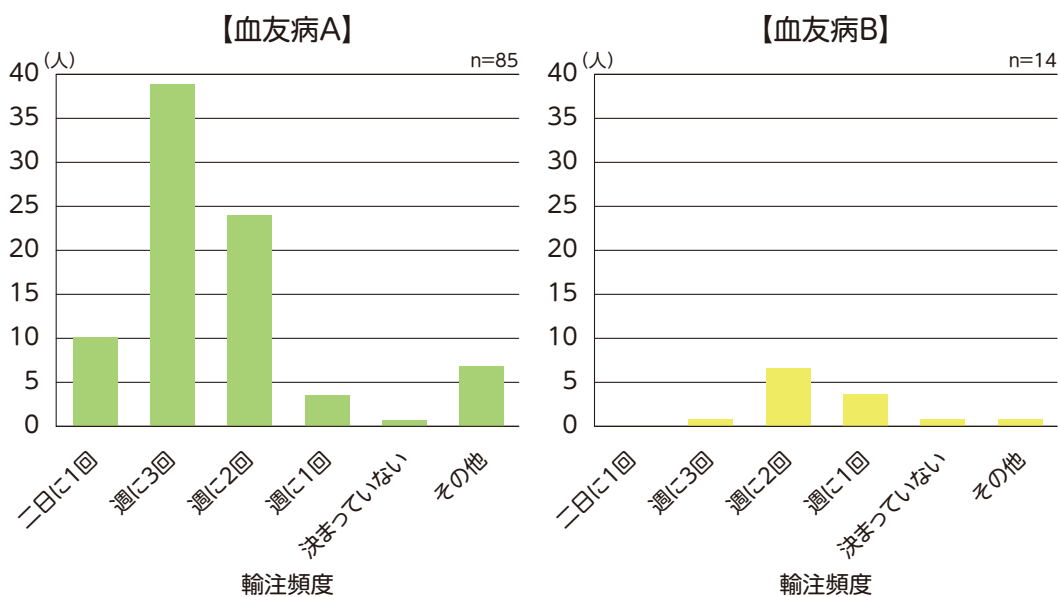


図3-4 定期補充療法時の輸注量(体重1kgあたり)

定期補充療法の輸注頻度は、ガイドライン(血友病Aでは週3回または2日に1回、血友病Bでは週2回または3日に1回)より少ない傾向が見られました。血友病Aで輸注頻度が週に2回以下であった患者さんは32人(35%)、血友病Bで輸注頻度が週に1回以下であった患者さんは5人(28%)でした(図3-5)。



* その他の中でそれぞれ投与頻度の少ない回答も含む

図3-5 定期補充療法時の輸注頻度

4. 使用薬剤について

今回の調査に協力いただいた患者さんの約78%は、遺伝子組換え製剤を使用していました。遺伝子組換え製剤は、血友病Aでも血友病Bでも大半を占めましたが、血漿由来製剤は高齢層で使用される傾向がみられました。使用薬剤の種類が分からないという回答が全体の12%(11人)あり、私たちは患者さんは製剤について興味がないのか医師から情報提供が無かったのか、情報共有の在り方について注目しました(図4-1)。

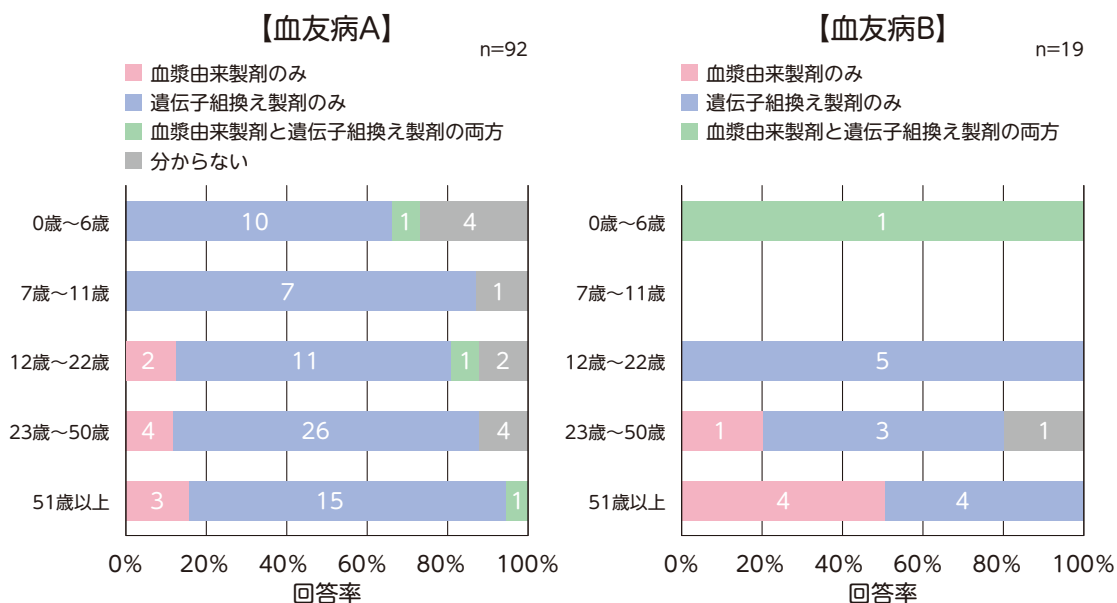


図4-1 使用薬剤

使用製剤に関する考え方を尋ねた質問に対しては、血友病A、血友病Bのいずれでも、「日本製の遺伝子組換え製剤が開発されることを望む」「遺伝子組換え製剤がもっと使われるべきだと思う」という項目に多くの回答が得られ(複数回答あり)、遺伝子組換え製剤への好意的な意見がみられました。「それぞれ複数の製剤があったほうが良いと思う」への回答も多く、血液凝固因子製剤の安定供給やさまざまな選択肢がある状態を希望していることが示唆されました(図4-2)。

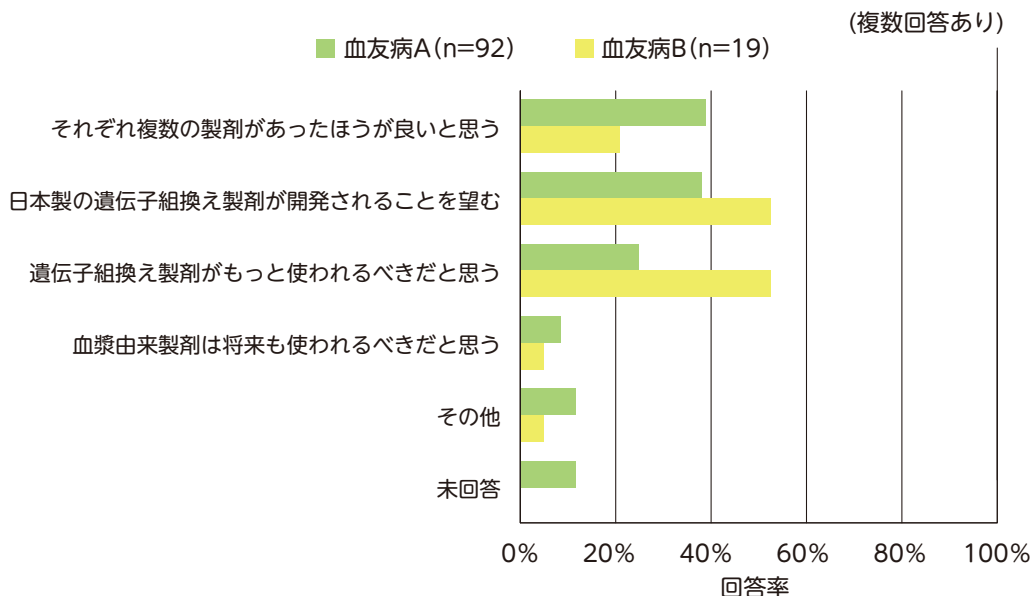


図4-2 遺伝子組換え製剤及び血漿由来製剤についての考え方

血漿由来製剤を使用している回答者19人(血友病A 12人、血友病B 7人)が血漿由来製剤を使用する理由の多くは、「昔から使い慣れていて問題ないから」「日本の献血由来だから」でした(複数回答あり)が、「主治医から勧められたから」という項目にも5人の回答がありました(図4-3)。

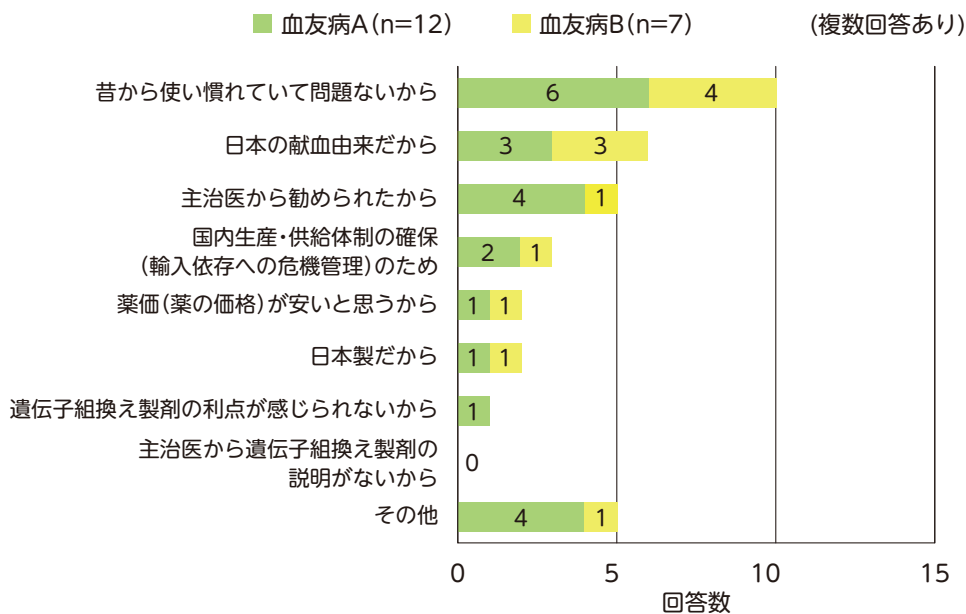


図4-3 血漿由来製剤を使用する理由

一方、遺伝子組換え製剤を使用している回答者の多くは、「主治医から勧められたから」(60%)および「血漿由来製剤よりも安全性が高いと思うから」(53%)を使用理由に挙げていました(図4-4)。

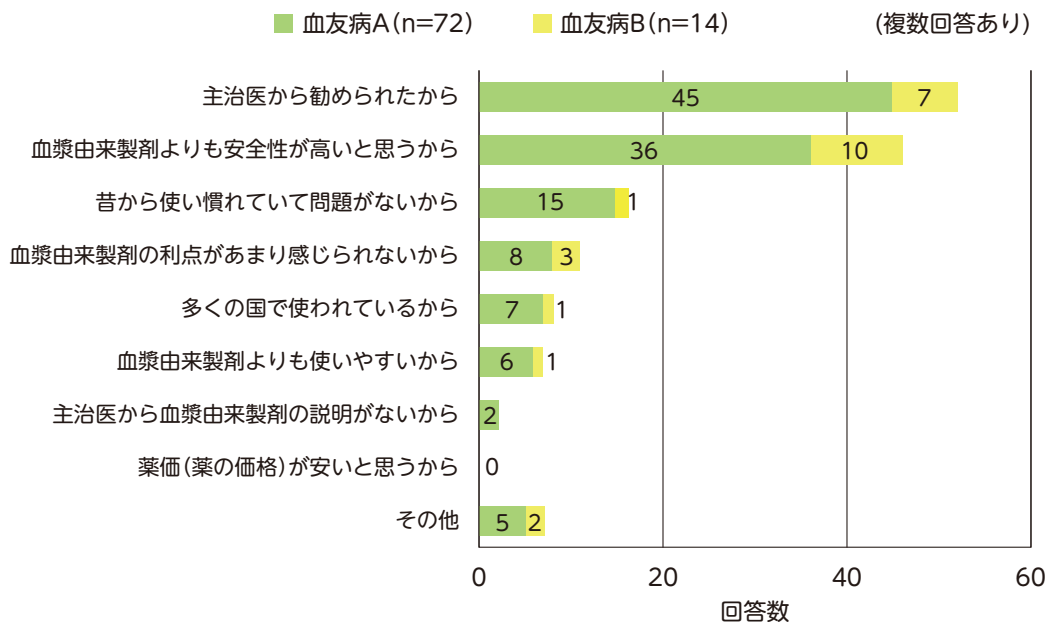


図4-4 遺伝子組換え製剤を使用する理由

遺伝子組換え製剤、血漿由来製剤それぞれに期待する事項を、重要と思う順に並べていただいたところ、図4-5のような分布となりました。いずれの製剤でも、安全性(「感染症に対する安全性がさらに高まること」および「インヒビター発生が少なくなること」と安定供給が担保されることが重要であり、利便性(「より簡便に溶解し易い製剤が開発されること」および「室温で保存できる期間が長くなること」)や薬価が選択肢として比較的重要視されていないことが示されました。

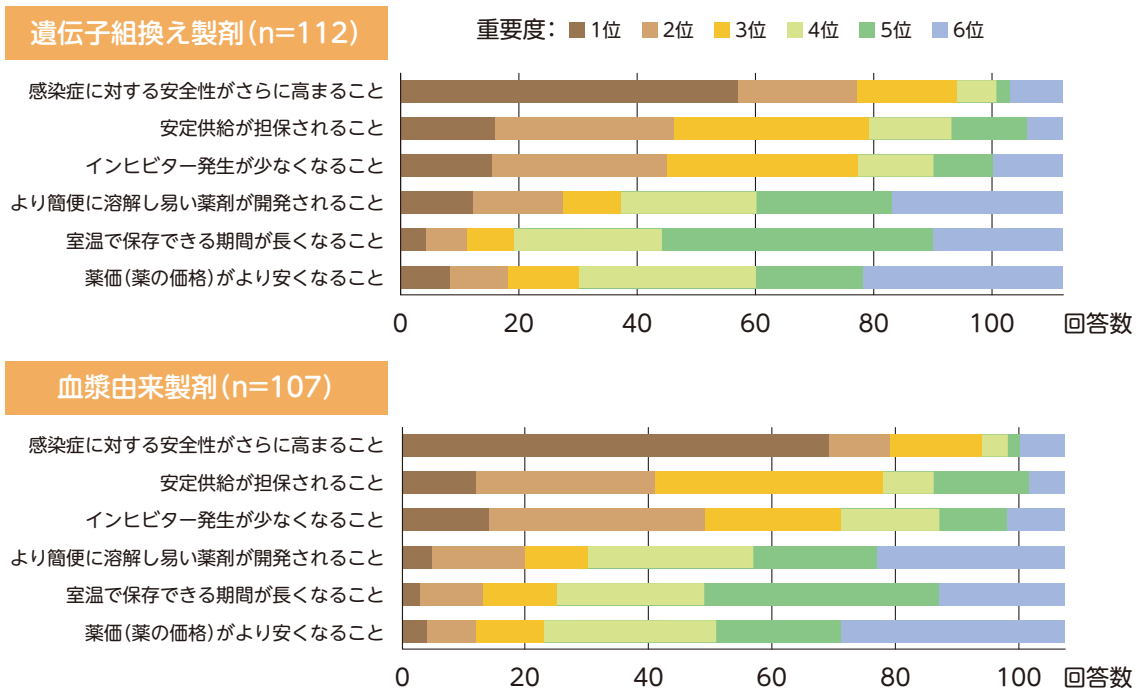


図4-5 各製剤に期待する事項の重要度順位

5. 薬価について

図4-5で示されたように、使用薬剤の薬価は比較的重要視されていないという結果が示唆されましたが、このことは薬価に関する質問でも同様に傾向がみられました。遺伝子組換え製剤と血漿由来製剤の薬価の違いについて尋ねた質問に対し、「両者の薬価の違いは知らない」という回答が62%と大半を占めました(複数回答あり)(図5-1)。

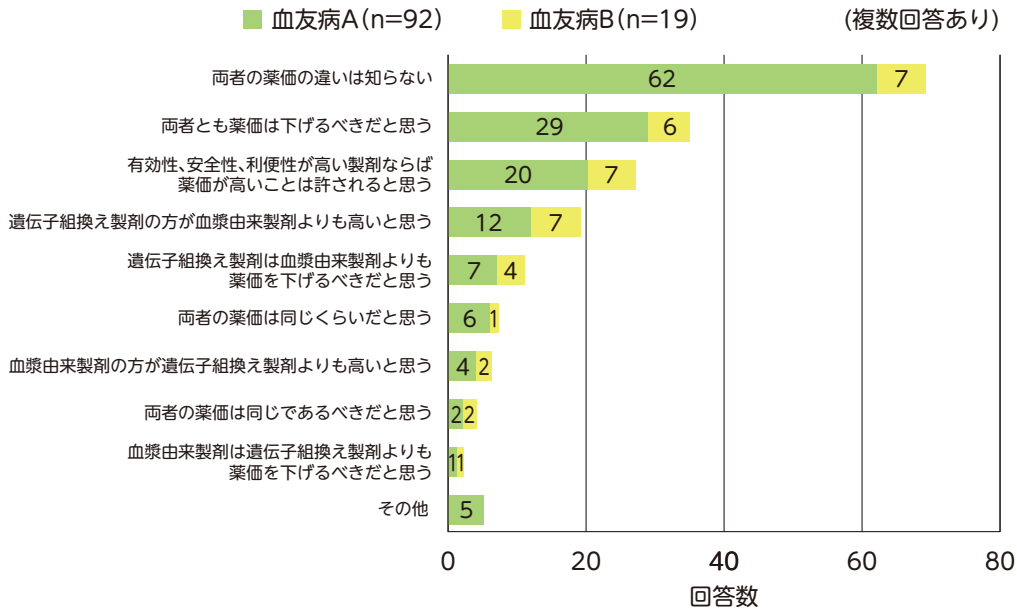


図5-1 遺伝子組換え製剤と血漿由来製剤の薬価の違いについて *薬価=製剤(薬)の価格

さらに、薬価に対する考えを尋ねた質問では、「将来自己負担が増える可能性が心配」(77%)「薬剤費が高いことは日本の医療費の増大につながるので気にかかる」(59%)の2項目への回答が多くみられ(複数回答あり)、薬価そのものよりも、診療における自己負担や医療費に関心度が高いことがうかがえました(図5-2)。

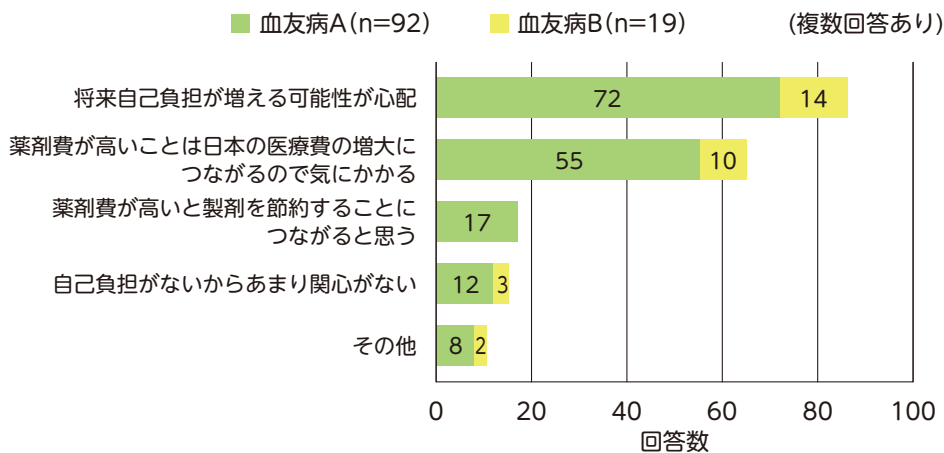


図5-2 薬価に対する考え *薬価=製剤(薬)の価格

アンケートにご協力いただきました患者様ならびにご家族の皆様へ、あらためてお礼申し上げます。

EFPIA Japan バイオロジクス委員会血液製剤部会では、血友病患者の皆様の治療とQoLの向上につながるよう、今後もヘモフィリア友の会全国ネットワークを中心とする患者会や医療機関の先生方と相談しながら、実態調査や啓もう活動に努めていきたいと考えています。



欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan)
バイオロジクス委員会 血液製剤部会

〒100-8265 東京都千代田区丸の内1-6-5 丸の内北口ビル
(バイエル薬品株式会社内)

info@efpia.jp

