

ふくろう通信

2023年
10月号
(通算67号)



目次

- 1 巻頭言 原田久生会長 P.2
- 2 最高顧問挨拶 衛藤義勝先生 P.4
- 3 講演録 中山和弘先生 P.6
- 4 会員便り 九州・沖縄ブロック JFA会員 P.14
- 5 国内Topics 岡田正恵 理事 P.16
- 6 海外Topics 郭育子 理事 P.18
- 7 特定社会保険労務士による障害年金のお話 佐々木久美子氏 P.20
- 8 耳よりなお話 JFA会員 星野ゆき代さん P.21
- 9 ふくろうライブラリー P.22
- 10 編集後記 P.22
- 11 お問い合わせ 巻末

巻頭言

「障害者総合支援法（難病を含む）とは」

難病患者は今ある生活上の困難を解消するため、
うまく各市町村の障害福祉サービスを受
療養生活が改善できているか



一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会（ふくろうの会）会長
原田 久生

暑さも過ぎ、今は秋の真ただ中、後1か月もたてば冬の訪れ、そして新たな年を迎え2023年度は終わります。そんな流れの中で、3年も悩まされた新型コロナは5月には5類になり、落ち着きを取り戻してきたかと思いきや一気に流行し出しました。基礎疾患を持つ我々は感染症にも耐えうる身体作り、そして療養生活を見出してきています。こうした状況を繰り返しながら、みんな長生きしてきています。そこには新たな環境というか今まで経験したことのない世界へ入ったと言えます。そこにはエビデンスの無い薬、国民全体が新たな治験状態に入ったのではないかとさえ思われます。

我々は1972年難病対策要綱時から難病法成立を目指し、指定難病を56疾病から300疾病台に寄せ、2014年5月には超党派議員によって難病法・改正児童福祉法が成立、翌2015年1月1日に施行されました。その後付帯事項の5年の見直しが始まった最中に、新型コロナが猛威となり、厚労省難病対策課は省内の事情でその全員が新型コロナ対策要員となりました。その為、約3年の間、5年の見直しが出来ませんでした。2022年12月16日にやっと国会審議が進み、しかも障害者総合支援法と一体改正ということで可決成立しました。

改正案としては2023年10月1日に難病の医療費の助成前倒しを中心とする施行、また、来年4月に難病データベース、登録者証に関して施行するという二段階で取り組んでいくというものです。これはまさに社会保障と税一体改革の中で、難病と小慢制度を安定的な制度にしなければならないということで、法改正を踏まえて施行されました。

障害者総合支援法（難病を含む）は2014年に施行された法律です。患者団体や患者会があまりにも踏み込んでこなかった法律です。今回も難病患者等の療養生活支援の強化という視点では、各地域でのハローワーク等には難病患者就職サポーターを配置しているので就労上に活用できるようにしています。また各市町村には福祉部門が設けられ障害福祉サービスが享受できるようになっています。障害の種類も多く、サービスも多くあり、一層複雑化の様相を呈しています。医師や医療機関の窓口も話してはくれません。患者自身が動いて希望に沿えるサービスを受享受してください。〈地元の社労士、又は当会専属の佐々木久美子さん（ふくろう通信に連載中）にまずご相談下さい。〉

ふくろうの会会員専用の相談窓口です。

【連絡先】佐々木久美子社会保険労務士事務所

sasakikumiko@nifty.com Tel / Fax: 03-3737-2813

電話が繋がらないときは、留守電に「氏名」「電話番号」と

「ふくろうの会会員です」とおっしゃってください。



第210回国会閣法第17号付帯決議は30項目に及びましたが 難病に関しては8項目となりました。

- 難病患者など障害者手帳は取得できないが障害によって働きづらさを抱える者への就労支援のために必要となる就労能力の判定の在り方について検討し、必要な施策を講ずること。
- 指定難病及び重症度分類の基準の選定に当たっては、引き続き、医学的見地に基づく日常生活上の困難さも十分考慮すること。また、小児慢性特定疾病について、成人後も切れ目のない治療が可能となるよう指定難病に指定することを検討すること。
- 難病患者等に対する医療費助成の前倒しに当たっては、申請日から医療費助成の対象の病状であると診断された日まで十分に遡って助成の対象とすること。また、自己負担限度額の在り方について、引き続き、必要なデータ収集を行うこと。
- 就労支援、医療・福祉、ピアサポート等、多岐にわたる相談業務を担う難病相談支援センターについて、関係機関との連携を密にしつつ、それぞれの強みを活かした相談支援を充実させるとともに、地域間格差が生じないように必要な人員の確保や研修等による職員の質の向上に努めること。また、難病対策地域協議会等が設置されていない都道府県等に対し、十分な協議が行われるよう、その設置を促すとともに、医療的ケア児等の他の協議会と共同で開催できる旨の周知に努めること。
- 難病患者等が地域において適切な医療を受けることができるよう、必要な予算や人員を確保しつつ、難病診療連携拠点病院を中心とした医療機関間の連携や移行期医療の体制整備などに取り組むこと。また、難病患者等の診療が制限を受けることは、命に直結することから、新型コロナウイルス感染症の感染が拡大する中でも、診療に制限がかかることのないよう万全の対策を講ずること。
- 難病患者等が治療によって、就労・就学において不利益な扱いを受けることがないよう、環境の整備に万全を期すこと。就労については、病気休暇等の普及促進、難病患者の障害者雇用率制度における取扱いの検討及び事業主への正しい理解の啓発に取り組むとともに、働きやすい環境整備に取り組むこと。
- 難病の根治に向けた研究、治療法の確立に資するデータベースの構築を図るため、データ登録の促進に努めるとともに、オンライン化を始めとした事務手続の簡略化を図ること。また、取り扱うデータは遺伝情報等が含まれることから、登録データのセキュリティ対策には万全を期すとともに、利活用の範囲については慎重に検討すること。
- 難病に苦しむ者の就労状況の実態把握に努め、治療を躊躇することなく、就労できる環境を創出するための、関係制度の検討及び他領域にまたがる政策の連携を通じた、支援策の充実に努めること。

最高顧問挨拶

第29回日本細胞遺伝子治療学会に参加して
～大阪国際会議場にて～

一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会（ふくろうの会）最高顧問
東京慈恵会医科大学名誉教授
衛藤 義勝 先生



筆者：ヨーロッパ遺伝子治療学会会長の講演司会を終えて

2023年9月11（月）～13日（水）に第29回日本細胞遺伝子治療学会が大阪で大阪大学神経内科望月秀樹大会長の下に開催された。前日の10日（日）は中津川美術館で前厚生労働大臣の加藤勝信先生（当時は大臣退任2日前で現役）と遺伝子治療学会の10名余りのメンバーと会食をしながら意見交換会を行い、今後のわが国の遺伝子治療の方向性並びに発展性、政府の応援政策を含め議論し、わが国が欧米からこの分野では、かなりの遅れを取っていることから、早急の立て直しが必要であるとの結論に達した。

大会でのプログラムは大変すばらしい会議で、展示も50以上で展示参加者150名以上、会議参加者は850名近くであり、初めて約30年間の歴史で、参加者が1,000名を超えた記念すべき会であった。

発表演題のなかでは、ライソゾーム病の遺伝子治療が、慈恵医大のムコ多糖症II型で、そろそろ来年あたりにレンチウイルスベクターによる遺伝子治療が開始予定であり、明るいニュースである。自治医大ではAADC欠損症患者のAAVベクターによる遺伝子治療が、ヒトで開始され6～7年経過、良好な成果を報告している。その他、ニーマン・ピック病C型或いはOTC欠損症の前臨床試験が発表された。その他の多くは、ガンの遺伝子治療が主流である。現在欧米では2種類のベクターが遺伝子治療に使用されている。遺伝性疾患では、AAVベクターでAADC欠損症、脊髄性筋萎縮症（SMA）、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、血友病A、B、遺伝性網膜ジストロフィーが承認されている。（図1）。一方、レンチウイルスベクターでは異染性白質ジストロフィー、 β サラセミア、早期大脳型副腎白質ジストロフィー、アデノシンデアミナーゼ（ADA）欠損症の4種類が米食品医薬品局（FDA）、欧州医薬品庁（EMA）で承認されているが（図2）、いずれも、わが国では未だ未承認である。今後は

わが国での独自の遺伝子治療薬の開発が望まれるが、いずれも大変高価で現在、血友病AのAAV遺伝子治療薬は日本円で、5億円とのことです。経済的問題も将来出そうである。しかし、1回で治療が完結する可能性もあり、今後の将来が期待されている。

図 1. 欧米で承認された AAV 遺伝子治療

承認された遺伝子治療製品 (2023年7月時点) (1/2)

| in vivo 遺伝子治療製品 | | | | | | |
|--|-----------------------------------|---------------------------|--------------------------------|------------------|-----|----------------------------------|
| 製品名 (INN/一般名) | 販売企業 | おもな適応 | ベクター | 導入遺伝子 | 投与 | 承認国・年 |
| Elevidys (delandistrogene moxeparovec) | Sarepta Therapeutics | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | AAVrh74 | micro-dystrophin | 静脈内 | 米国・2023 ¹⁾ |
| Vyjuvek (beremagene geperpavec) | Krystal Biotech | 栄養障害型表皮水疱症 | 改変HSV1 | COL7A1 | 経皮 | 米国・2023 |
| Adstiladrin (nadofaragene firadenovec) | FKD Therapies | 筋層非浸潤性膀胱癌 | アデノウイルス5型 | IFNα-2b | 膀胱内 | 米国・2022 |
| Hemgenix (etranacogene dezaparovec) | CSL Behring | 血友病B | AAV5 | F9 | 静脈内 | 米国・2022 欧州・2023 ²⁾ |
| Roctavian (valoctocogene roxaparovec) | BioMarin | 血友病A | AAV5 | F8 | 静脈内 | 欧州・2022 ²⁾ 米国・2023 |
| Upstaza (eladocagene exuparovec) | PTC Therapeutics | AADC欠損症 | AAV2 | AADC | 脳内 | 欧州・2022 |
| デリタクト (teserpaturev/テセパレブ) | 第一三共 | 悪性神経膠腫 | 腫瘍溶解性HSV1 (γ34.5, ICP6, α47欠損) | LacZ | 腫瘍内 | 日本・2021 ³⁾ |
| Zolgensma/ゾルゲンスマ (onasemnogene abeparovec/オナセムノゲン アベパロベック) | Novartis | 脊髄性筋萎縮症 | AAV9 | SMN1 | 静脈内 | 米国・2019 欧州・2020 日本・2020 |
| コラテジエン (A.A.M.Si.K.A. B. M. A. S.M.D.) | アンジェス/田辺三菱 | 慢性動脈閉塞症(潰瘍の改善) | プラスミド | HGF | 筋肉内 | 日本・2019 ⁴⁾ |
| Luxturna/ルクスターナ (voretigene neparovec/ボレティゲン ナペロベック) | Spark Therapeutics (米国)/ Novartis | 両アレル性RPE65変異 遺伝性網膜ジストロフィー | AAV2 | RPE65 | 網膜下 | 米国・2017 欧州・2018 日本・2023 |
| Imlygic (talimogene laherparepvec) | Amgen | 悪性黒色腫 | 腫瘍溶解性HSV1 (ICP34.5, ICP47欠損) | GM-CSF | 腫瘍内 | 米国・2015 欧州・2015 |
| Glybera (alipogene tiparovec) | UniQure | リポ蛋白リパーゼ(LPL)欠損症 | AAV1 | LPL | 筋肉内 | 欧州・2012 ⁵⁾ |
| Neovasculgen | Human Stem Cell Institute | 重傷下肢虚血を含む末梢動脈疾患 | プラスミド | VEGF | 筋肉内 | ロシア・2011 ウクライナ・2013 |
| Rexin G | Epeius Biotechnology | 固形癌 | レトロウイルス | 変異型cyclin G1 | 静脈内 | フィリピン・2007 |
| Oncorine H101 | Shanghai Sunway Biotech | 頭頸部癌 | 腫瘍溶解性アデノウイルス (E1B-55K, E3欠損) | なし | 腫瘍内 | 中国・2006 |
| Gendicine | Shenzhen SiBiono GeneTech | 頭頸部扁平上皮癌 | アデノウイルス | p53 | 腫瘍内 | 中国・2003 |

¹⁾迅速承認 ²⁾条件付承認 ³⁾条件及び期限付き承認 ⁴⁾本承認申請中 ⁵⁾販売終了

本表を執筆や講演スライド等に利用される際には、出典(国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページ)を明示して頂きますと幸いです

図 2. レンチウイルスでの遺伝子治療

承認された遺伝子治療製品 (2023年7月時点) (2/2)

| ex vivo 遺伝子治療製品 | | | | | | |
|--|--|-----------------------------------|---------------------|----------------|------|--|
| 製品名 (INN/一般名) | 販売企業 | おもな適応 | 製品の種類 (使用ベクター) | 導入遺伝子 | 投与 | 承認国・年 |
| Carvykti/カービクティ (ciltacabtagene autoleucl/シタカブタグ オトレウセル) | Janssen | 多発性骨髄腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | BCMA-CAR | 点滴静注 | 米国・2022 欧州・2022 ²⁾ 日本・2022 |
| Skysona (elivaldogene autotemcel) | bluebird bio | 早期大型型副腎白質ジストロフィー | 自己CD34+細胞 (レンチウイルス) | ABCD1 | 点滴静注 | 欧州・2021 ¹⁾ 米国・2022 ¹⁾ |
| Abecma/アベクマ (idecabtagene vicleucl/イデアカブタグ ビクレセル) | Bristol-Myers Squibb | 多発性骨髄腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | BCMA-CAR | 点滴静注 | 米国・2021 日本・2022 ²⁾ |
| Breyanzi/ブレヤンジ (lisocabtagene maraleucl/リソカブタグ マラセル) | Bristol-Myers Squibb | 大細胞型B細胞リンパ腫 濾胞性リンパ腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | CD19-CAR | 点滴静注 | 米国・2021 日本・2021 欧州・2022 |
| Libmeldy (atidarsagene autotemcel) | Orchard Therapeutics | 異染色性白質ジストロフィー | 自己CD34+細胞 (レンチウイルス) | ARSA | 点滴静注 | 欧州・2020 |
| Tecartus (brexucabtagene autoleucl) | Kite Pharma | マントル細胞リンパ腫 | 自己CAR-T細胞 (レトロウイルス) | CD19-CAR | 点滴静注 | 米国・2020 ¹⁾ 欧州・2020 ²⁾ |
| Zynteglo (betibeglogene autotemcel) | bluebird bio | βサラセミア | 自己CD34+細胞 (レンチウイルス) | βA-T87Q-globin | 点滴静注 | 欧州・2019 ¹⁾ 米国・2022 |
| Yescarta/イエスカルタ (axicabtagene ciloleucl/アキカブタグ シロセル) | Kite Pharma/ギリアド(国内) | 大細胞型B細胞リンパ腫 | 自己CAR-T細胞 (レトロウイルス) | CD19-CAR | 点滴静注 | 米国・2017 欧州・2018 日本・2021 |
| Kymliah/キムリア (tisagenlecleucl/チサゲンレクセル) | Novartis | B細胞性急性リンパ性白血病 大細胞型B細胞リンパ腫 濾胞性リンパ腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | CD19-CAR | 点滴静注 | 米国・2017 欧州・2018 日本・2019 |
| Strimvelis | GlaxoSmithKline | アデノシンデアミナーゼ(ADA)欠損症 | 自己CD34+細胞 (レトロウイルス) | ADA | 点滴静注 | 欧州・2016 |
| Zalmoxis | MolMed | 造血器悪性腫瘍 (ドナーT細胞輸注時のGVHD予防) | 同種T細胞 (レトロウイルス) | HSV-TK, ΔLNGFR | 点滴静注 | 欧州・2016 ³⁾ |
| Fucaso (equecabtagene autoleucl) | Innovent Biologics/ IASO Biotherapeutics | 多発性骨髄腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | BCMA-CAR | 点滴静注 | 中国・2023 |
| Carteya (relmacabtagene autoleucl) | JW Therapeutics | 大細胞型B細胞リンパ腫 | 自己CAR-T細胞 (レンチウイルス) | CD19-CAR | 点滴静注 | 中国・2021 |

¹⁾迅速承認 ²⁾条件付承認 ³⁾販売終了

本表を執筆や講演スライド等に利用される際には、出典(国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページ)を明示して頂きますと幸いです。

《一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会》
【東京シンポジウム2023】 2023年5月14日 開催

* 講演録 *

「患者中心の医療に求められるもの」

聖路加国際大学大学院看護学研究科
看護情報学分野教授
中山 和弘 先生



【プロフィール】

東京大学医学部保健学科卒業，東京大学大学院医学系研究科博士課程（保健学専攻）修了。

1992年日本学術振興会特別研究員（PD）。

1993年国立精神・神経医療研究センター精神保健研究所流動研究員。

1995年東京都立大学人文学部社会福祉学科助手。

1998年愛知県立看護大学助教授，2004年聖路加国際大学教授 現在に至る。

著書『これからのヘルスリテラシー 健康を決める力』（講談社，2022年）／『健康への力の探究』（共編著，放送大学教育振興会，2019年）／『ヘルスリテラシー—健康教育の新しいキーワード』（共著，大修館書店，2016年）／『看護学のための多変量解析入門』（医学書院，2018年）など。サイト「健康を決める力」<http://www.healthliteracy.jp/> 運営

患者中心の医療に
求められるもの

中山和弘
聖路加国際大学大学院看護学研究科

全国ファブリー病患者と家族の会
東京シンポジウム2023
2023年5月13日（日） 13:00～15:40

患者中心とは
patient-centeredness

- 患者のプリファレンス（希望、意向、好み）・ニーズ・価値観を重視した**意思決定**の保証と意思決定のための情報提供と支援（旧米国国立医学研究所 →全米医学アカデミー）

私が行っている研究は、1つはヘルスリテラシーについてです。それは、簡単に言うと、情報を得て、自分で決められる力です。

そして、もう1つは、多様な治療法がある中で選んでいくというのは大変なことだと思いますが、それをいかに医療者と患者と一緒に協力して決めていくかというシェアードディシジョンメイキングの研究をしています。

最初に、患者中心という言葉はよく使われるのですが、多くの人はどうしても字面だけで判断してしまいます。患者中心ということは、今まではどうだったのかということ、基本的には医師が中心でした。それをなんとか患者中心に変えられないかという議論がなされてきました。

国際的な定義でよく引用されているのは、全米医学アカデミー（旧：米国国立医学研究所）による定義です。患者中心性（patient-centeredness）

とは、患者のプリファレンス（希望、意向、好み）、ニーズ、価値観、つまり患者がどうしたいのかということを重視した意思決定の保証であると。そして、意思決定のための情報提供と支援をするというのが「患者中心」であると言っています。

患者中心とは patient-centeredness

- 患者のプリファレンス（希望、意向、好み）・ニーズ・価値観を重視した**意思決定**の保証と意思決定のための情報提供と支援（旧米国国立医学研究所 → 全米医学アカデミー）

2つ以上の
選択肢から
1つを選ぶこと

では、意思決定とは一体何なのかというと、それは2つ以上の選択肢から1つを選ぶこと。要するに、選択肢がないと意思決定はできないということで、選択肢を知ることが大事になります。

患者中心を実現する患者の力 情報に基づいて**意思決定**できる力 =ヘルスリテラシー：健康を決める力



中山和弘：これからのヘルスリテラシー 健康を決める力。講談社、2022

患者中心を実現する患者の力としては、情報に基づいて意思決定できる力=ヘルスリテラシー、私はこれを「健康を決める力」と呼んでいます。それはどういうものかということ、基本的には情報を入手してから意思決定に至るプロセスということで、情報リテラシーという言葉もありますが、中身としてはそれと同じです。情報を得て、それを理解する。例えばどんな病気でどんな治療法が

あるのか。次に、それを評価する。

それは本当に信頼できる情報なのか、自分に合っているのか、自分に合った情報とは何なのかという評価ですね。そして最終的に意思決定です。選択肢の中から決める。それが自分の健康に結びつくことになります。従って、能力としては、入手、理解、評価、意思決定の4つを経ることができる力というのが、ヘルスリテラシーの国際的かつ一般的な定義になっています。

リテラシーとは？

- “Letter” = 「文字」が由来、読み書き能力
- 「社会に参加し、自らの目標を達成し、潜在能力を発展させるために必要な能力」（PIAAC：国際成人力調査、2013）
- **人間の尊厳、誰もが持つべき権利 = 人権**
- **自分らしく生きる権利**

ヘルスリテラシーという言葉はこの20年ぐらい、世界で盛んに使われるようになって、日本では特にコロナになってからよく使われるようになりました。もともとリテラシーとは何かということについて少し振り返ってみましょう。それはLetter = 文字が由来です。読み書き能力、よく識字と言いますが、なぜそれが必要なのでしょうか。リテラシーは、2013年の国際成人力調査(PIAAC)で「社会に参加し、自らの目標を達成し、潜在能力を発展させるために必要な能力」と定義されています。潜在能力とは、生まれ持った力ですね。色々な可能性を持って生まれてくる人々が、どのような目標を達成するのか。あるいはどんな役割を果たすのか。やりたいことができるのかどうか。それに必要な能力がリテラシーであると言われています。読み書きが当たり前に行っていると、あまり考えないことですが、これが「健康のことが読み書きできるか」ということに応用されているわけです。

リテラシーには、情報リテラシーだけでなく、金融リテラシーなど色々なものがあります。そうすると、何か高度な能力のように思われるかもしれませんが、私も、色々あって、そんなのできないよって感覚はあるのですが、リテラシーという言葉自体には、もともと人間の尊厳であり、誰もが持つべき権利、人権であるという意味が込められています。自分らしく生きる権利なのだと。

実際、健康情報を自分でちゃんと理解して決められるかというところに応用しているわけですが、ヘルスリテラシー関係の国際会議に行きますと、彼らはやはり「エンパワーメント」であり「ヒューマンライツ」なのだと盛んに言います。

さらに、ヘルスリテラシーを測定できるようにしようということで色々な研究が行われています。

ヘルスリテラシーの測定

- ヨーロッパで開発され世界で使われている包括的な測定ツール→European Health Literacy Survey (HLS-EU-Q47)
- 健康情報の**入手、理解、評価、意思決定**という能力を47項目で測定
- EU8か国で実施、2014年に日本のWeb調査、20-69歳の男女1054名、後にアジア6か国・地域で実施

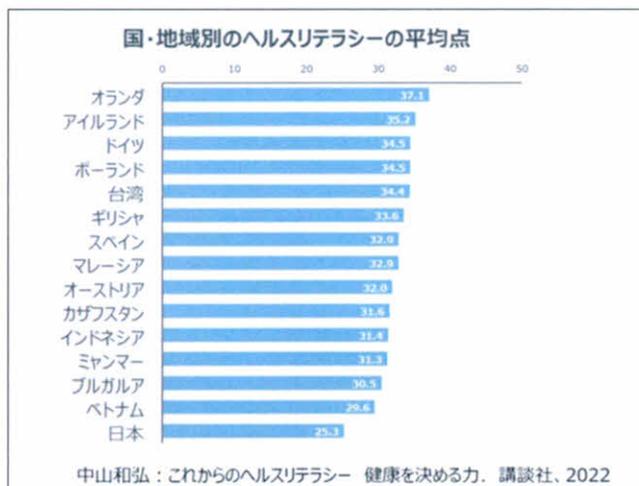
Nakayama K, et al. Comprehensive health literacy in Japan is lower than in Europe: a validated Japanese-language assessment of health literacy. BMC Public Health. 2015 May 23;15:505

代表的なものは、EUのプロジェクトで開発された47問で測定するツールです。健康情報の入手、理解、評価、意思決定という項目を用意して測定します。これは自分で回答できるものです。

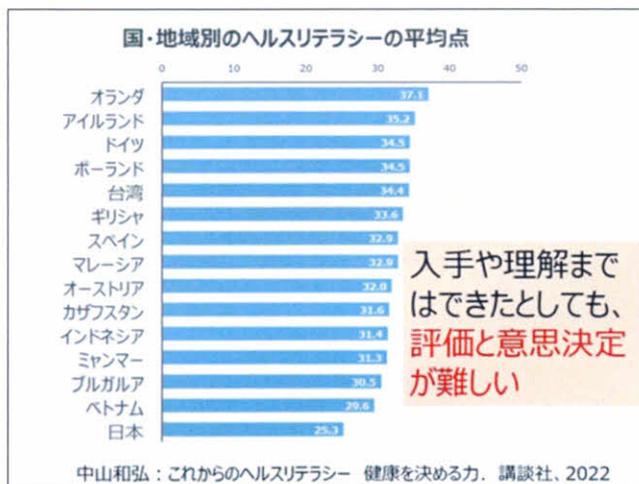
これがEU8か国で実施されたのを見つけて、日本でもやってみようと思ったのが2014年です。その前年ぐらいにネットで見つけ、すぐメールを送って調査票を取り寄せて、日本では1000名ほどで実施しました。

後にアジアでも調査が行われ、その結果にすごく驚いたのですが、これは47項目を50点満点に換算できて、ヨーロッパではオランダが1位で37点。アジアでは台湾が一番高くて34点。残念

ながら日本はかなり低くて25.3点で、これは私の調査でも、その後に調査した他の色々な人達も、30点いくかいかないか、だいたい25点~30点で、ベトナムとかブルガリアあたりの点数になります。



自分で回答するものなので、かなり色々な偏りがあるとはいうものの、こんなに低いのはどうしてだろうと色々考えてみました。



4つの能力をそれぞれ測るのですが、入手したり理解したりはできても、評価したり意思決定するところが日本人は大幅に点数が低いのです。そこがどうも要因なのではないか。

では、どうして評価が難しいのか。健康情報源として、ここさえ行けばわかりやすく信頼できる公的な包括的なWEBサイト、例えばアメリカのMedlinePlus、イギリスのNHSなどは本当に患者、市民が見てわかりやすいWEBサイトです。果たして日本にそうしたWEBサイトがあるか。

評価が難しい

- ここさえ行けばというわかりやすく信頼できる**公的な包括的なサイト** = MedlinePlus、NHSなどがない
- 『世界価値観調査』によれば、**新聞・雑誌やテレビへの信頼**は、欧米諸国約1～4割、日本約6～7割
- 1次資料（元ネタ）が得られやすい**インターネットへの信頼**は、25の国・地域全体で74%、日本では51%で最も低い（CIGI-Ipsos, 2019）
- 意思決定のための情報（選択肢とその長所・短所）よりは**正解（正しい選択肢）**を求めている？

それから、世界価値観調査によれば、新聞・雑誌やテレビへの信頼は、欧米諸国は1割～4割であるのに対して、日本人は6割～7割である。それに対して一次資料……新聞・雑誌は元ネタを取材して作っているわけですが、その元ネタは実はネットに公開されていることが多いので、本来インターネットというのはいはもっと信頼されていいはずなのに、世界では74%の人が信頼しているのに対して日本では51%で最も低い。

そして、これはメディアの人と話したりするのですが、そういう意思決定のための情報を提供するというようなことをすると、むしろ苦情が来るのだそうです。どちらなのか教えてほしいと。例えばHPVワクチンを接種するのかもしれないのか、両方の良い点悪い点を記事にしたらどう？と言うと、そういう記事は「どっちなのか」と読者から言われると。この新聞をとっているのは、あなたの情報を信頼しているからなのだ。NHKの人と話してもそういうことを言うわけです。答えが欲しいのだと。

だけどそれは、日本人が意思決定というものをなかなかしてこなかった、あるいはできていなかったということなんですね。正解、正しい選択肢を教えてください。それはそれで必要なことではあるのですが。

そして、実は、評価の方法も我々は教えてもらっていないんです。情報の評価、特に信頼性の確認ということになると、頭文字をとって「か・ち・

も・な・い」=価値もない、というのを一生懸命広めようとしているのですが、国際的な基準でもこれが大学や学校でも教えられています。日本では残念ながら体系的に教えられていません。「か」=書いたのは誰なのか、ちゃんとした専門家なのか。それから「ち」=違う情報と比べたのか。「も」=元ネタは何なのか。「な」=何のための情報か、これは広告ではないのか、などですね。それから「い」=いつの情報なのか。最新の情報なのかどうか。

情報の評価の方法 = 信頼性の確認 「か・ち・も・な・い」の5つ「価値もない」 →国際的な基準と同等

- か 書いたのは誰か？
- ち 違う情報と比べたか？
- も 元ネタは何か？
- な 何のための情報か？
- い いつの情報か？

これを確認しないと価値もない、というふうに覚えられるので、普及に努めたいのですが、これをぜひ知ってほしいのになかなか学べていません。それから、意思決定が難しいのはなぜかということで調べていきました。よく言われているのは、2つの決め方があるということです。

意思決定が難しい：2つのスタイル

1.直感的な意思決定

- 勘や感情を中心として素早く選ぶ
- 選択肢が**不足**して選ぶべきものを選べない可能性

2.合理的な意思決定

- 情報を集めて**選択肢の長所と短所**を比較して何が大事かを考えて選ぶ
- 選ぶ理由が**価値観**に合っていて明らか = **自分らしさ**

1つは、直感的な意思決定で、勘や感情を中心として素早く選ぶことです。これは普段私達が

やっていることが多いのですが、大事なことを決める時にこれでいいのか、ということです。選択肢が不足して、例えば他に治療法があることを知らないで選んでいいのだろうか。

2つ目は、合理的な意思決定です。これは時間がかかりますが、情報を集めて選択肢の長所と短所を比較して、何が大事かを考えて選ぶということです。選ぶ理由が価値観に合っていて明らかで、自分らしさを表現できるという意味でもそうですし、なぜそれを選んだのかを他者に説明できるというのも大事な点です。

ではこの、合理的な意思決定というのが日本では教育されているかという、私も教育されてこなかったと思いますし、多くの人に聞いても、これをわざわざ習ったことはない。経験的に学んだかもしれないけど、という意見が多いわけです。

意思決定が難しい理由？

- ・『世界価値観調査』(2017-2022)によれば、幸福感が高い国や地域ほど**人生の選択の自由度**が高い。
- ・日本の幸福感は先進国では低めで、人生の選択の自由度は**88の国・地域の中で86番目**。
- ・日本人は、他の国よりも、意思決定に**自信が無く**、意思決定を回避し、衝動的あるいは直感的な意思決定になりやすい(Mannら、1998; Martinsonsら、2006)
- ・新しい学習指導要領の保健では、「**課題を見付け、その解決に向けて思考し判断する(思考力・判断力)**」という項目がようやく新設

意思決定が難しい理由としては他にも、幸福感が高い国や地域ほど人生の選択の自由度が高いのです。日本の幸福感が先進国の中で低めだというのはよくニュースになっていますが、人生の選択の自由度というのは88の国・地域の中で86番目です。2014年の世界価値観調査でも57の国のうち57位です。それから、日本人は他の国よりも意思決定に自信が無く、意思決定を回避し、衝動的あるいは直感的な意思決定になりやすいという研究もあります。

さらに、文科省の新しい学習指導要領の「保健」では、課題を見つけその解決に向けて思考し判断

する(思考力・判断力)という項目がようやく新設されました。

高校の保健の教科書で言えば、去年の教科書からようやく、この指導要領に基づいて、ここが強調されるようになりました。それまでは、日本の教育では理解までがゴールでした。そうすると、入手、理解まではできるけど、その後の評価、意思決定ができないのは当然だという話でもあります。

自分らしく意思決定する方法 胸(腹)に『お・ち・た・か』 →国際的に推奨されている方法

- お オプション(選択肢)がそろっているか
- ち 各オプションの長所を知る
- た 各オプションの短所を知る
- か 長所と短所を比較して何が重要か

では、どうやって自分らしく意思決定ができるか。これも覚えやすいように「お・ち・た・か」=(胸または腹に)落ちたか、としました。

これは国際的にも推奨されているもので、意思決定の理論の専門家、あるいはビジネスや心理学、医学の分野でも言われている重要な意思決定の要素として、以下の4つがあります。

「お」=オプション(選択肢)がそろっているか。「ち」=各オプションの長所を知る。「た」=短所を知る。それから「か」=それらを比較して自分にとって何が重要かを考えて決める。その頭文字をとって「お・ち・た・か」と覚えられないか。納得することを「胸に落ちた」とか「腹に落ちた」と言うと思います。企業の人にはよく「腹落ちする」という言葉が使われますが、それで覚えられないかということで考えました。

しかし、実際に意思決定の方法がまだ十分普及していないと、以下のようなことが起きてしまうのではないかと危惧しています。

どれを選んだとしても、選んだ結果に対して何らかの後悔があるかもしれない。しかし、なぜあのような決め方をしたのかと後悔すれば、二重の後悔になるわけです。

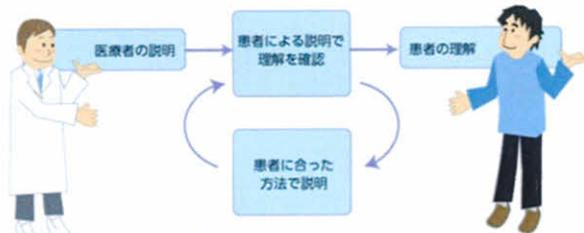
意思決定の方法で後悔しないために

- どれを選んでも、何らかの後悔があるかもしれない
- しかし、なぜあのような決め方をしたのかと後悔すれば、**2重の後悔**になる
- 病気の治療のように、**専門家の支援**が必要な難しい意思決定がある

納得した意思決定 = 自分らしさ = 幸せ

病気の治療のように、専門家の支援が必要な難しい意思決定がある中で、先ほどのような決め方ができれば、納得した意思決定ができて、それが自分らしさであり、幸せなことなんじゃないかということをもう少し考えた方が良いと思います。

コミュニケーション = 情報共有 ティーチバック (teach-back)



「わかりましたか」は禁句
「帰ったら、奥さんに、病院で何と言われたと話しますか」

中山和弘：これからのヘルスリテラシー 健康を決める力。講談社、2022

意思決定を支援する医療者の立場からすると、まずコミュニケーション（情報共有）が十分にできなければいけません。ヘルスリテラシーの議論で、要するにみんなヘルスリテラシーは低いのだということで、医療者にはティーチバックが推奨されています。

海外のヘルスリテラシーに関する記事では必ずこの言葉が出てきます。これは、医療者が説明したら、その内容を患者さんに自分の言葉で説

明してもらおうということです。それで、うまく説明できればもう一回患者さんに合った方法で説明する。その時「わかりましたか」は禁句だと。わかってなくても「はい」と答えてしまうからです。でもテストしているみたいになってしまうので、「帰ったら奥さんに（またはご主人に）、病院で何と言われたと話しますか」という話し方が推奨されています。

難しい意思決定を支援する 患者中心の医療の実現方法



- 誰が決めるかで3つ
- **パターナリズム** = 専門家
- **シェアードディシジョンメイキング** = 市民や患者が専門家の支援で一緒に
- **インフォームドディシジョンメイキング** = 市民や患者がより主体的に
- **自分で決められることは幸せ**という考え方

中山和弘：これからのヘルスリテラシー 健康を決める力。講談社、2022

難しい意思決定を支援する患者中心の医療の実現方法として、今国際的に注目されて、日本でも少しずつ普及し始めているのが、シェアードディシジョンメイキングというものです。

医師が中心となって決めるというスタイルも否定するわけではありませんが、このシェアードディシジョンメイキングという形で、市民や患者が専門家の支援と一緒に決められないかと。この背景には、自分で決められることは幸せだという考え方が指摘されています。

意思決定ガイド (ディシジョンエイド)

- 支援者によって方法が違くと、選ぶ**結果が偏る**可能性
- 誰もが**中立的に支援**できるためのツールとして意思決定ガイドが開発
- 選択肢と長所・短所を、**一覧表**にして自分にとって何が重要かを考えられる



ところが、支援者によって方法が違くと選ぶ結果が偏る可能性が出てきます。あの医師だとあの治療法になる、この医師だとこの治療法になる、というようになると、それは本当に患者中心なのだろうか。

そこで、誰もが中立的に支援できるためのツールとして、意思決定ガイド（ディジションエイド）というものが開発されています。選択肢と長所・短所を一覧表にして、自分にとって何が重要かを考えられるツールです。

意思決定ガイドは、胸（腹）に「お・ち・た・か」を明らかにするもの

| 選択肢 | 長所 | 大切さ | 短所 | 問題の大きさ |
|-----|----|-----------|----|-----------|
| ① | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| ② | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| ③ | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |

中身としてはこういう構造で、要するに先ほどの「お・ち・た・か」が表になっているわけです。選択肢のオプション、長所と短所、大切さと問題の大きさが価値観です。例えば長所として、長く生きることができるけれども、短所として副作用が大きいとか、そういうことになった場合、どちらが大事なのか。これを全部5にしてしまうと決められないということが起こります。

意思決定ガイドは、胸（腹）に「お・ち・た・か」を明らかにするもの

| 選択肢 | 長所 | 価値観 | 短所 | 価値観 |
|-----|----|-----------|----|-----------|
| | | 大切さ | | 問題の大きさ |
| ① | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| ② | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| ③ | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |
| | ・ | 1 2 3 4 5 | ・ | 1 2 3 4 5 |

これが価値観を明確にするということ、自分はどれが大事なのか、点数をつけてみるわけです。それがすぐにできないので、ひとつ私ができることとして、この「か・ち・も・な・い」と「お・ち・た・か」を学ぶ動画を作りました。

「か・ち・も・な・い」と「胸に『お・ち・た・か』」を学ぶ動画

・いずれも4割以上が「学んだことはない」



情報が信頼できるかをチェックする方法「か・ち・も...」
自分らしく決める方法「胸に『お・ち・た・か』」

www.youtube.com/@healthliteracy-skills
www.tiktok.com/@healthliteracy

これも、私の調査では4割以上が「学んだことはない」という回答がありました。ではどこで学んだかという、みんな独学をしているわけです。小中高校または大学で習ったという人はそれぞれ5%くらいしかいませんでした。職場で習ったという人も5%くらいしかいませんでした。国際的な比較をまだやっていないのでわかりませんが、やはり日本はちょっと少ないのではないかと思います。

それで、私ができることとして動画を作り、YouTubeとTikTokで公開しています。私の名前で検索していただければすぐ出てくると思いますので、ぜひご覧になってみてください。どんどん広めてもらっても構いません。

患者中心の医療を実現する力 =ヘルスリテラシー

- ・信頼できる情報(かちもない)で
 - ・選べる**選択肢(オプション)**と**長所**と**短所**を知り、自分の**価値観**をもとに**(胸におちたか)**
 - ・多様な人(ヘルスケア、地域、職場、政治、企業)が**つながりながら**
 - ・**健康と幸せを決める力**
 - ・それを**支援できる力**
- = 医療者のヘルスリテラシー

| 選択肢 | 長所 | 短所 | 価値観 |
|-----|----|----|-----|
| | | | |
| | | | |
| | | | |



患者中心の医療を実現する力=ヘルスリテラシーとは何なのだろうと考えると、信頼できる情報でチェックして、胸に落ちたかを基に、多様な人々がつながりながら、健康と幸せを決める力だと。そして、それを支援できる力が、医療者のヘルスリテラシーと言われています。

従って、ヘルスリテラシーというのは患者だけに求めるものではなく、医療者が、その人らしい決め方ができるように支援できる力のことをそう呼ぶようになっています。

ただ、一人では難しいので、先ほど言ったように「つながり」が必要です。その人が決めて、あるいはどういう支援を受けたら健康になれたかというのを情報共有する。

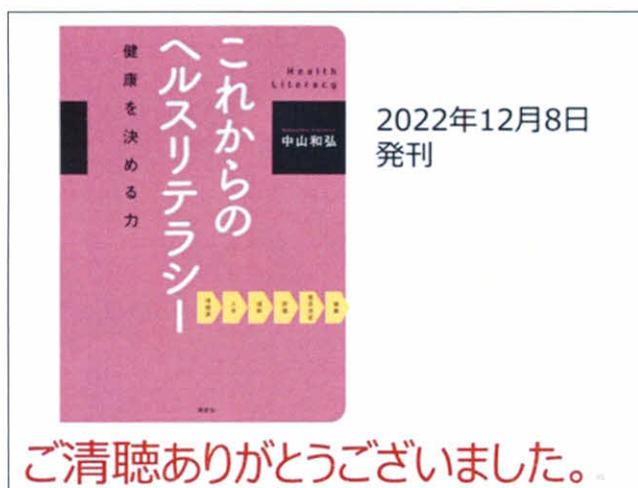
それが、「つながり=学びあう」ことを通じて、また情報源になる。やはり患者会、ネットワーク、医療者と患者のつながり等、色々なものが大事だということです。



詳しいことは、去年出した下記の本をお読みいただければありがたいです。ご清聴ありがとうございました。

『これからのヘルスリテラシー 健康を決める力』

中山和弘先生著書（講談社、2022年）



》～会員便り（北から南から）～

仕事とファブリー病の少しリアルなお話

九州・沖縄ブロック JFA 会員 匿名希望

僕は平成 20 年に社会人デビューし、おかげさまで 15 年目を迎えました。その間、会社の業績悪化に伴うリストラを 2 回、業務上のミスによる契約解除を 1 回、期限付きの仕事を 4 回と、様々な職種を転々としてきました。今回は、色々な会社で仕事をしていた時に経験した、ファブリー病を患いながら働く事の大変さや理不尽さ、そして喜びや有難みについて、少しお話しさせて頂ければと思います。

僕は地方の出身で、地元近くの専門学校を卒業後、新卒で小さな IT 関係の会社に就職しました。仕事は決して順調ではありませんでしたが、優しい先輩方や同僚に恵まれ、それなりに充実した日々を過ごしていました。入社 2 年目の 12 月頃に、上司から北海道への長期出張の打診がありました。実は、僕はファブリー病である事と、2 週間に 1 回の点滴の為、通院が必要である事を、面接時に隠して入社していました。どうしても内定が欲しかったのと、会社が基本的に土日は完全休暇で、点滴は土曜日にしていたので、支障は出ないだろうと考えていたのですが、その考えが甘かった様で、その時初めて上司にファブリー病の事をお話したのですが、案の定、怒られました。結局、出張の件は他の社員に話がいった様で、僕はその後、基本的に近場で出来る仕事を割り振られる様になりました。ただ、この時、社内規則や人事の基準がどの様になっていたのか知りませんが、クビ等の処分は特にありませんでした。内心ヒヤヒヤでしたので、とてもホッとしたのを覚えています。結局、それから約 1 年後に会社都合でリストラになってしまい。転職をするのですが、この時に学んだ事は、「次回からは面接でファブリー病である事を正直に話す事」でした。

その後、縁あって造船関係の会社に就職したのですが、ここが結構な地獄だった様に思います。事務関係の仕事で入社したのですが、実際に現場に行き、設備や製作状況のチェック、機器の動作試験、資材や資料の運搬など、現場作業もそこそこあり、夏場は四肢疼痛が出やすい事もあって、場合によってはテグレートール（カルバマゼピン）を服用しながら作業に取り掛かりました。生活が懸かっていたので、もう本当に気合と根性まかせ、がむしゃらでした。そうこうして、なんとか仕事を続けていたある日のこと、先輩社員から休日出勤の打診があり、点滴の日と被ってしまった為、断った時の事でした。「ただか 1 日 2 日位、治療の日にちをズラしても、そんなに身体には影響せんやろ。別に病院行くなと言ってる訳じゃなくて、数日ズラすだけじゃん？なんでそれが出来ないの？」確かこんな感じのセリフを言われました。お医者さんではないので詳しくは分かりませんが、確かに、数日ズラした位では影響しないかも知れません。ですが、その休日仕事は、僕の本来の業務とはあまり関係のないもので、人手も足りていました。断っても問題ないだろうと判断したのです。その際、詳しくは書けませんが、全然関係のない、僕の担当医の悪口も言われてしまい、物凄く嫌で、いたたまれない気持ちになり、担当の先生に対しても、とても申し訳なく思いました。仕方がないので、しぶしぶ出勤し、作業に取り掛かりましたが、思った通り、2、3 時間程で作業は終わりました。先輩は満足そうでしたが、僕は、はらわたが煮えくり返りました。その後も、退職するまで、度々ファブリー病絡みで、この様な理不尽な扱いを受ける事がありました。

続いて、今度は鉄工所に入社した時の事ですが、ここが恐らく、自分の社会人生活の中で、肉体的・精神的に限界近くまで行ったところではないかと思えます。ここには、前職の造船所の繋がりや、事務員として入ったのですが、やはり事務以外の仕事も多くありました。ここに入社する際、ファブリー

病の事は社長をはじめ、幹部社員に伝えていたのですが、それでも鉄パイプや鉄製の備品などの運搬、配達、場合によっては検品や出荷用の荷造り等の現場作業をする羽目になりました。やっぱりな、と思いましたが、ここでもやはり生活の事が頭をよぎり、またまた気合いと根性まかせの日々が始まりました。田舎の鉄工所なので、怒鳴られる事も多く、たまにですが、作業中に手が飛んでくる事もありました。割と陰湿な嫌がらせも多く、肉体と精神が日々削られて行きました。設備も古いせいか、工場内の夏は40℃超え、冬は-3℃位まで下がり、トイレの水が凍って出てこない程でした。ただ、幸いな事に点滴に関しては必ず有休を取得することが出来、通院に関しては一切支障がありませんでした。問題だったのは、鉄パイプ等の各製品を自分で運ばなくてはならない時で、これは本当に堪えました。特に夏場は一日に2回程、テグレートールを服用しながら作業し、何度か熱中症らしき症状にも見舞われました。そんなこんなで日々を過ごしていた折、いつも通り点滴の為に有休申請したことを、ある先輩社員に雑談中に伝えると、「またか。もうお前、ここ（会社）に点滴の道具持って来て、打ちながら仕事すればいいやん。」に続き、「それかも、点滴飲んで来ればいいやん。」と、笑いながら言われました。正直、とてもショックだった事と同時に、呆れてものが言えませんでした。先輩に悪気は無かったと思うのですが、身体の丈夫な現場の作業員に何とか合わせて仕事をしていく為に、身体のコンディション作りには最善を尽くしているという自負があったので、日々の努力を否定された様に感じ、とても虚しくなりました。実際、それでもよく体調を崩していたので言われても仕方ありませんが、どれだけ体調に気を遣って仕事をして、健常者にはそれが伝わりにくいのだなと、この時改めて感じました。結局、この職場もコロナ禍による不況の影響により、リストラ退職となりましたが、色々な意味で、良い経験をさせて頂いたと、今では感じています。

さて、ここまで僕が社会人になって経験して来た中で、そこそこ辛かった事をお伝えさせて頂きましたが、この経験があったからこそ、現在、勤めさせて頂いている職場で、普通に働ける事の喜びや有難さを噛みしめています。また、これは僕自身の気付きですが、僕は昔から身体が弱く、運動も勉強も苦手で、特にこれといった特技も無い根性無しで、自分の将来に対して、いつも得体の知れない大きな不安を抱えていました。特に高校2年生になったくらいから、こんな状態で、将来社会に出て、本当に自立してやっていけるのだろうか、ととても不安に思っていました。なぜならその時の僕は、「ファブリー病だから絶対に現場仕事は無理、デスクワークで食べて行くしかないんだ！」と思い込んでいたからです。だったら真面目に勉強しろと言いたいところですが、思春期で若干楽観的な性格だった事もあり、努力を怠ってしまいました。しかし、そんな自分が造船所や鉄工所で、軽作業とはいえ、現場の仕事を経験できた事は、大きな自信になりました。ああ、意外と現場作業も出来るものなのだ、この事に気付けたのは、自分の人生の財産だと思っており、同時に、今まで当たり前だったオフィスワークに対して、改めて有難みを感じる事が出来る様になりました。

最後になりますが、僕以上に重い症状や、辛い思いを抱えながら生活されている方は、まだまだとても多いと思っております。今回、自分が社会人になって経験した中でも、かなり辛かったと感じた出来事を書かせて頂いたのは、ファブリー病の皆様方、特にこれからの未来の可能性がたくさんあるファブリー病の子供たちに対して、ちょっとでもリアルな事をお伝えできれば、何かを感じ取ってくれるのではないかと、将来に対しての、何らかの行動の動機になってくれるのではないかと、今回書かせて頂きました。

以上になりますが、終わりに、高校時代にファブリー病を見つけて頂いた、元県立病院勤務の先生、並びに、現在酵素補充療法でお世話になっております、クリニックの先生、そして医療スタッフの皆様のお陰で、問題なく日常生活が送れている事に感謝申し上げます。



国内 Topics

(国内担当理事 岡田 正恵)

去る9月9日(土)東京慈恵会医科大学にて、遺伝病遺伝子治療シンポジウム2023が開催されました。当日は当会編集委員も出席させていただき、貴重な講演を聴講することができました。

国際ライソゾーム病フォーラム 日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT) サテライトシンポジウム ～遺伝病遺伝子治療シンポジウム2023～

主催：NPO法人日本ライソゾーム病研究センター&国際ライソゾーム病フォーラム

《講演プログラム》

特別講演 「遺伝子治療の最近の進歩 概説」

- 講演：小澤 敬也 先生 (自治医科大学難治性疾患遺伝子細胞治療開発講座・客員教授・名誉教授)
司会：大橋 十也 先生 (東京慈恵会医科大学看護学科・健康科学疾病治療教授)

特別講演 「ゲノム編集治療の最近の動向」

- 講演：三谷 幸之介 先生 (埼玉医科大学医学部ゲノム医学研究センター教授)
司会：山形 崇則 先生 (自治医科大学小児科前主任教授・栃木県立リハビリテーションセンター長)

講演 「レンチウイルスベクターによる遺伝子治療」

- 講演：嶋田 洋太 先生 (東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター遺伝子治療部講師)
司会：小林 博司 先生 (東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター遺伝子治療部教授)

講演 「ムコ多糖症遺伝子治療」

- 講演：樋口 孝 先生 (東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター遺伝子治療部講師)
司会：奥山 虎之 先生 (埼玉医科大学ゲノム医療科特任教授)

講演 「AAVベクターを用いた遺伝子治療研究 -AADC遺伝子治療-

- 講演：小島 華林 先生 (自治医科大学小児科准教授)
司会：村山 圭 先生 (順天堂大学難治性疾患診断・治療学講座教授/千葉こども病院代謝科)

特別講演 「神経疾患のAAVベクターを用いた遺伝子治療」

- 講演：村松 慎一 先生 (自治医科大学 神経遺伝子治療部門特命教授)
司会：小坂 仁 先生 (自治医科大学小児科主任教授)

特別講演 「新しいAAV遺伝子治療ベクターと臨床応用」

- 講演：PROF.HILDEGARD BUENING (欧州遺伝子細胞治療学会前会長・ハノーバー大学教授)
司会：衛藤 義勝 先生 ((財)脳神経疾患研究所先医療研究センター長・慈恵会医科大学名誉教授)

遺伝子治療は先生方のおかげで研究が進んでおり、数多くの疾病を対象に、技術的には治療の段階まで進めることが可能であるにもかかわらず、国・製薬企業・医療者の連携の課題、資金の課題、マンパワー不足等々、問題がたくさんあり、前進が大変である現状も伺うことができました。

ファブリー病は様々な症状に苦しむだけでなく、遺伝病ということから、病気そのものが人生の選択に大きな影を落とすので、それが悩みの種になっている人も多いのではないのでしょうか。遺伝子治療はそんな患者達の希望にもなり得るのではと感じられました。そして、私達患者も病気や治療について学んでいくことが大切でしょう。

● 特別講演をされた自治医科大学 神経遺伝子治療部門 村松 慎一 教授より

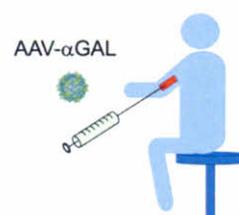
ふくろうの会の患者と家族に向けてメッセージをいただきました ●

急速に発展する遺伝子治療

自治医科大学 神経遺伝子治療部門
村松 慎一 教授

遺伝子治療というと何だか難しそうと思われるかもしれませんが、でも、実は、既に多くの方は、遺伝子治療と似た医療技術を体験しています。それは、新型コロナウイルスのワクチンとして開発されたメッセンジャー RNA やアデノウイルスベクターです。これらは新型コロナウイルスの遺伝子の一部を身体の中に投入することで抗体を作ります。

ファブリー病の遺伝子治療では、 α -ガラクトシダーゼ (α -GAL) の遺伝子を身体の細胞に導入し、そこで α -GALを作ります。この細胞に遺伝子を送達するのに、最近、活躍が著しいのがアデノ随伴ウイルス (AAV) という、多くの方には馴染みの薄いウイルスを応用したベクター (遺伝子の運び屋) です。AAV は、前述のアデノウイルスと名前は似ていますが全く別のもので、明らかな病原性はありません。現在、AAV ベクターは、いろいろな病気の遺伝子治療に応用されて、画期的な成果が得られています。



SMN1 という遺伝子の変異により運動神経細胞が脱落してしまう脊髄性筋萎縮症 (SMA) に対して、SMN1 遺伝子を搭載した AAV ベクターであるゾルゲンスマ® が日本でも薬事承認されています。この疾患の重症型では、生下時より筋力が弱く人工呼吸が必要となります。しかし、早期に遺伝子治療すれば、たった 1 回の AAV ベクターの静脈注射で人工呼吸を必要とすることなく、歩行できるようになります。この遺伝子治療薬は、世界で 2500 人以上、日本でも 100 人近くに投与されて著明な治療効果が得られています。

私たちは、脳のドーパミンが不足し精神運動発達障害を生じる芳香族アミノ酸脱炭酸酵素 (AADC) 欠損症に対して、AADC 遺伝子を搭載した AAV ベクターを脳内に注入する遺伝子治療を開発しました。これまでに日本で 10 人、台湾で 30 人、フランスでも 2 人にこの遺伝子治療が実施され改善効果が得られています。また、オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症、グルコーストランスポーター 1 欠損症、ニーマン・ピック病 C 型などに対する遺伝子治療を開発し、治験の準備を進めています。大人の病気では、パーキンソン病と筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療の治験も開始しています。

AAV ベクターは安全なベクターですが、米国で実施された先天性ミオチューブラーミオパチーという筋疾患に対する治験では、極めて高用量の AAV ベクターの投与を受けた被験者の方が亡くなった事例が報告されています。また、ファブリー病の遺伝子治療の治験では、血小板減少などの副作用が生じています。しかし、ベクターの改良による投与量の低減や、投与方法の工夫などにより、安全な治療が開発できると考えています。

AAV ベクターを応用した遺伝子治療は効果が期待できる疾患が急増しているため開発費用が不足していることが問題ですが、遠くない将来にファブリー病の遺伝子治療も実用化されるでしょう。

海外 Topics

(海外担当理事 郭 育子)

注目の AAV 遺伝子治療ベクターの研究者とのインタビュー対談
サテライトシンポジウム 2023

Japan Society Gene and Cell Therapy (JSGCT) 日本遺伝子細胞治療学会にて、今回衛藤先生のご紹介によって、ドイツから来日された女性科学者に編集委員から初の直接インタビューが実現しました。

ドイツ ハノーバー大学
ビューニング教授 博士
Prof. Dr. Hildegard Buening
欧州遺伝子細胞治療学会前会長
主な研究：AAV ウイルス



インタビュー対談

【編集委員】 本日は、この学会の特別講演としてメインのテーマとなった遺伝子治療ベクターについて、その先生が長年研究されてきた注目の新しい AAV 遺伝子治療ベクターについて説明をお願い致します。

【ビューニング教授】 このベクターはウイルスの一種でアデノ随伴ウイルスベクターと呼ばれます。今までのタイプと異なりより安全でより効率よく免疫細胞で警察パトカーの様な働きをします。AAV2 や AAV9 などはそのパトカーの車種として考えるとわかりやすいでしょう。正常の酵素などの遺伝子が入りこのパトカーで全身に運ばれる仕組みです。これは、患者さんの身体に直接注入するタイプのインビボ遺伝子治療 (in vivo) です。以前のものより安全、確実に効率良くを最優先に研究してきました。

【編集委員】 革新的な科学の発展に向けて先生が大切にされている事とは何ですか。

【ビューニング教授】 私は、遺伝子治療のエンパワメントと呼び、幅広い協力者がお互いの力を持ち寄り、理解を示し受け入れて協力して行く事が大変重要だと感じます。臨床研究から治療法の開発を実現させる道筋として私たち研究者だけが頑張り願っていても叶いません。何より重要なのが規制当局の政府と初期段階から一緒に組んで進める事が大切です。基礎研究も含めた研究のサポートも重要です。同時に次世代の研究者や臨床医の育成もやらなければならない事です。高額になる治療のコスト削減も1つの大きな課題です。動きを公にして利害関係者との関係作りも必要となります。アクセスできる医療ビッグデータ (臨床現場で得られる診療行為に基づく情報を集めたデータ) も鍵となります。欧州では、私たちドイツの研究者だけでなくフランスの研究者とも連携して取り組んでいる所です。また、新生児スクリーニングも大変重要な役目を果たします。特にライソゾーム病の場合、生まれてすぐ時間との闘いとなる疾患も多いので最も重要なのがその治療のタイミングでもあります。そして、私たち科学者や研究者に大切なのは患者さんとの関係です。今日のように患者会から話を聞きに、学会に参加し理解しようとする試みには大変感謝致します。こちらからお礼を申し上げます。

編集委員からの感想

今回インタビュー全体を通して、ビューニング先生は長年されてきたご自身の研究について、とても熱心にコチラが理解しやすい様に、言葉を選び丁寧に説明して下さいました。その姿から患者レベルとの対話も大変大切に考えていらっしゃる方という印象でした。女性の科学者や研究者がライソゾーム病分野においてもまだ少数派なのはここでも例外ではありませんが、これからの遺伝子治療の確かな発展に患者会からも大きな期待を持っている事を直々にお伝えすることができました。日本からもビューニング先生のような科学者／研究者がもっと育っていけるように私たち患者会に何が出来るか。日々進化する新しい治療法開発には失敗もあり時間的、経済的忍耐が必要です。まず私たちがすぐ出来ることは、理解が難しいから聞かない見ないではなくこうした先生方の研究の取り組みにも関心を持ち続け患者の思いを現場の開発者に伝えるという大きな役割も一つあると感じました。

海外での関連イベント

- 8月29日～9月1日 SSIEM 先天性代謝異常学会 定例シンポジウム (イスラエル エルサレム)
- 9月1日～30日 新生児スクリーニング啓発月間
米国 FSIG (Fabry Support Information Group) と Testing for Tots 共同提供キャンペーン #newbornscreeningawareness #fabrydisease #testingfortots
- 9月18日&19日 レアアドボカシー サミット (米国 サンディエゴ) #WeekinRARE
レアヘルス公平性フォーラム (米国 サンディエゴ) #WeekinRARE
- 9月20日～22日 米国 NFDF 第13回 ファブリーファミリー教育会議 (3日間)
- 9月22日～24日 米国 NFDF 第12回 ヴィクトリージャンクション (ノース カロライナ ランドルマン) ファブリーファミリーキャンプ (2泊3日)

告知情報 初開催決定!

第1回ライソゾーム病サミット in オーストラリア メルボルン

2023年10月27日～29日



この10月、オーストラリアで初開催のライソゾーム病サミット第1回は、当会と交流を深めているオーストラリアの患者会のファブリーオーストラリアが主催します。また、イベント運営会社 Ethrio と GMI 社の共同で3日間のサミットは、スポンサー4社の協力のもと独立運営されます。

サミットでは、オーストラリアとその周辺のアジア太平洋地域から代謝性とライソゾーム病の医療従事者、研究者等が集まり、ライソゾーム病の臨床医、研究者が直面している課題に取り組み、最新の研究情報について議論し、改善の機会を明確にします。

2023年のライソゾーム病サミットは、ライソゾーム病の発生率と有病率について認識を高め、患者の特定と専門家への紹介に対して改善戦略を立て、代謝性およびライソゾーム病の人材資源を増やす方法について議論し、診断と治療の障壁を克服するための手順を定めることを目的としています。さらに、サミットは研究者と臨床医が最新の情報を共有し、ライソゾーム病の研究と管理の分野における機会と課題について話し合うフォーラムを提供します。

サミットでは、対象を絞った教育セッションやパネルディスカッション、協働レセプションが開催されます。このプログラムは、すべての医療従事者、科学者、研究者、患者擁護者、その他関心のある医療専門家等を対象としています。最新の詳細プログラムについては、ウェブサイト↓をご覧ください。

Lysosomal Disease Summit website: <https://lysosomal diseasesummit.org>



特定社会保険労務士による障害年金のお話：⑤

～ 障害年金 社労士の視点から ～

特定社会保険労務士
佐々木 久美子 氏



今号では「障害の程度」を説明します。年金額に直結するので、一番気になる点でしょうか。ご参考までに所得制限のある20歳前傷病を除いて、就労・所得・資産・仕送りは生活保護と異なり、障害年金の手続や受給を妨げません。

●障害の程度とは

障害認定の公平を期し事務の円滑な運営を図るための「国民年金・厚生年金保険 障害認定基準」(日本年金機構のホームページからも確認できます)の「第2 障害認定に当たっての基本的事項 1 障害程度」から抜粋しますが、障害年金の決定はケースバイケースで、一言一句が一致する必要はありません。

- 1 級** 他人の介助を受けなければほとんど自分の用を弁ずることができない程度で、身のまわりのことはかろうじてできるが、それ以上の活動はできないもの又は行ってはいけないもの※、家庭内の生活でいえば活動の範囲がおおむね就床室内に限られるもの
※：本人はできるというものの医師が禁止する状況
- 2 級** 必ずしも他人の助けを借りる必要はないが、日常生活は極めて困難で、労働により収入を得ることができない程度で、家庭内の極めて温和な活動(軽食作り、下着程度の洗濯等)はできるが、それ以上の活動はできないもの又は行ってはいけないもの、家庭内の生活でいえば活動の範囲がおおむね家屋内に限られるもの
- 3 級** 労働が著しい制限を受けるか又は労働に著しい制限を加えることを必要とする程度

1級の障害年金受給者の中には、活動の範囲が就床室内に限らない方も大勢います。全く見えないものの障害者雇用で勤務を続けていたり、精神障害で施設に通所したりしています。2級で配慮ある職場や障害者雇用で働くケースがあり、労働による収入を得ている方もいます。2級に定められている「必ずしも他人の助けを借りる必要はない」は一人暮らしも想定されている文言で、この認定基準が定められたときに想定されました。現代日本を予測していたように筆者は感じます。

実際の受給状況は次の通りです。

年金制度基礎調査(障害年金受給者実態調査) 令和元年より 人数の単位：千人

| | 人数 | 割合 | 等級別割合 |
|--------------|-------|-------|-------|
| 障害基礎厚生年金 1 級 | 70 | 3.3% | 33.7% |
| 障害基礎年金 1 級 | 636 | 30.4% | |
| 障害基礎厚生年金 2 級 | 223 | 10.6% | 59.8% |
| 障害基礎年金 2 級 | 1,030 | 49.2% | |
| 障害厚生年金 3 級 | 137 | 6.5% | 6.5% |
| 合計 | 2,096 | | |

医師によっては障害年金の診断書作成は「障害の状態である」ことを証明することで、敗北のように捉えている方がいます。筆者の私見ですが、特に外科系はその傾向が強いようで、失敗がなければ発病前と同等に生活可能と書かれたりします。日頃の診察で日常生活や労働の支障を丁寧に伝えることが、適切な診断書入手、ひいては見合った等級決定につながります。

【連絡先】：佐々木久美子社会保険労務士事務所 sasakikumiko@nifty.com

》 ～耳よりなお話～

JFA 会員 星野 ゆき代 さん

特別支給の老齢厚生年金

定額部分をもらい忘れていませんか？

日本年金機構による障害等級3級以上に該当する程度の状態にある方が、報酬比例部分にあわせて定額部分（+加給年金）を受給するには、受給者からの請求を要します。

●特別支給の老齢厚生年金とは、

昭和60年の法律改正により、厚生年金保険の受給開始年齢が60歳から65歳に引き上げられました。その際、受給開始年齢を段階的に、スムーズに引き上げられるために設けられたのが「特別支給の老齢厚生年金」です。

受給要件（右記）を満たしている場合、報酬比例部分を受給することができます。

●特別支給の老齢厚生年金の受給開始年齢

生年月日と性別に応じて、それぞれ受給開始年齢が異なります。

| 生年月日 | | 特別支給の老齢年金支給開始年齢 | | | | |
|---------------------|----------------------|-----------------|-----|--------|--------|--------|
| 男性 | 女性 | 61歳 | 62歳 | 63歳 | 64歳 | 65歳 |
| S32.4.2 ～S34.4.1 | S37.4.2 ～S39.4.1 | | | 報酬比例部分 | | 老齢厚生年金 |
| | | | | | | 老齢基礎年金 |
| S34.4.2 ～S36.4.1 | S39.4.2 ～S41.4.2. | | | | 報酬比例部分 | 老齢厚生年金 |
| | | | | | | 老齢基礎年金 |

「特別支給の老齢厚生年金」 受給要件

- 男性の場合、昭和36年4月1日以前生まれ
- 女性の場合、昭和41年4月1日以前生まれ
- 老齢基礎年金の受給資格期間（10年）がある
- 厚生年金保険等に1年以上加入していた
- 生年月日に応じた受給開始年齢に達している

障害者特例の適用

特別支給の老齢厚生年金（報酬比例部分）受給者が障害の状態になった場合、障害者特例の適用を受けることができ、受給者の請求により、翌月分から報酬比例部分に加えて定額部分を受け取ることができます。

なお、障害年金受給者は、特例の適用を受けられる状態になった時点で遡って請求したものとみなされます。

請求条件

※請求が必要です。

1. 特別支給の老齢厚生年金の受給権を有している
2. 厚生年金保険被保険者資格を喪失している
3. 厚生年金保険法に定める3級以上の障害状態にある身体障害者手帳の等級とは異なります。
現在、障害厚生年金3級を受給していない方でも3級以上に該当する程度の状態にある方は、対象となります。

●特別支給の老齢厚生年金の受給開始年齢

生年月日と性別に応じて、それぞれ受給開始年齢が異なります。

| 生年月日 | | 特別支給の老齢年金支給開始年齢 | | | | |
|---------------------|----------------------|-----------------|-----|--------|--------|--------|
| 男性 | 女性 | 61歳 | 62歳 | 63歳 | 64歳 | 65歳 |
| S32.4.2 ～S34.4.1 | S37.4.2 ～S39.4.1 | | | 報酬比例部分 | | 老齢厚生年金 |
| | | | | 定額部分 | | 老齢基礎年金 |
| S34.4.2 ～S36.4.1 | S39.4.2 ～S41.4.2. | | | | 報酬比例部分 | 老齢厚生年金 |
| | | | | | 定額部分 | 老齢基礎年金 |

※障害厚生年金3級程度……日常生活にはほとんど支障はないが、労働については制限がある方。
不明な場合は、社会保険労務士への相談をお勧めします。


 ふくろうライブラリー
「本は人生のパートナー」


災害級の猛暑だった夏も過ぎ、読書の秋、到来です。

『電車のなかで本を読む』 島田潤一郎 青春出版社

以前は、電車の中で本を読む人はよく見かけていましたが、最近は、ほとんどいません。この本は、書店のこと、本を読むことの意味や本を選ぶコツなど、著者の読書愛がギッシリと詰まっている一冊です。

表現がとても豊かで、本を地図と見立てたり、人との出会いと同じとも書かれています。難しい本ばかりを推奨せず、漫画で逆境を乗り越えた経験談は漫画好きの人、必見です。

『この夏の星を見る』 辻村深月 角川書店

2020年、コロナ禍で部活動が制限されるなかでの、中高生達の天文活動の物語です。

合唱や放送コンクール等の相次ぐ中止のなか、望遠鏡で星をつかまえるスピードを競う「スターキャッチコンテスト」で、オンラインで繋がっていく。

茨木、渋谷区、五島列島……

中高生達が、それぞれの悩みを抱えながら望遠鏡を作り、観測に向け心を一つにしていく。

「将来、コロナ世代って呼ばれるかも」という言葉にせつなさを感じましたが、その時代を乗り越えた友との絆は、きっと強いはずです。

『本当は「ごめん」って言いたかった』 内田裕司 すばる舎

この本ほど、うなずきながら、涙しながら読んだ本は、ないかもしれません。

友人、知人には、こたわりなく謝れます。ところが、親となると……

自分は悪くない、ここで負けたくない、と意地を張ってしまうことが、多々あります。

それは、甘えと〇〇があるからと著者は書かれています。

この〇〇こそが、私の心の中にいつもあるのだと思います。

ビジネスでの謝り方、夫婦間での対応。「あやまるチカラ」を身につけると、人生が開けると思える一冊です。

【本のプチ案内人】

編集後記

- クリスマスケーキやおせち料理の予約の宣伝がもう気付けばあり、こんなに早くにインフルエンザの流行など様々な変化について行くのが必死です。 (埼玉 郭)
- 厳しい夏も終わり、一年で一番好きな季節がやってきました。秋といえば栗、栗といえば栗きんとん。お節料理の栗きんとんとは全くの別物で、お店によって味が違うので、食べ比べも楽しい秋の名菓です。ぜひ検索してみてください。 (愛知 岡田)
- 過ごしやすい秋が訪れてきました。この時期、各所で祭り行事が盛んな私の地域では、近年、コロナ禍で自粛や縮小し開催していた「ふとん太鼓」や「だんじり祭り」は、今年は制限なく、以前のように活気あふれる姿に戻ります。今年は楽しめそうですね。 (大阪 桑原)
- 10月に入ると秋祭りの太鼓の音が色々なところから聴こえてきて秋を感じるのですが、今年はまだまだ暑いです。秋が待ち通しいです。 (香川 岡田)



Better Health, Brighter Future

タケダは、世界中の人々の健康と、
輝かしい未来に貢献するために、
グローバルな研究開発型のバイオ医薬品企業として、
革新的な医薬品やワクチンを創出し続けます。

1781年の創業以来、受け継がれてきた価値観を大切に、
常に患者さんに寄り添い、人々と信頼関係を築き、
社会的評価を向上させ、事業を発展させることを日々の行動指針としています。



訪問医療マッサージ
KEIROW

誤嚥防止訓練にも
取り組んでいます!

ご存知
ですか??



自宅や高齢者施設で
受けることができる

訪問鍼灸・マッサージの事

国家資格を持った施術師が
ご自宅までお伺いいたします。



健康保険適用※
自己負担金額で利用可

高額療養費
対象

介護保険
併用可

※健康保険適用には、医師の同意が必要です。

お問い合わせは下記より! まずはお気軽にご相談ください。



訪問医療マッサージ
KEIROW



0120-558-916

HITOWAライフパートナー株式会社 KEIROW事業部

〒108-6215 東京都港区港南2-15-3 品川インターシティC棟

【受付時間】9:30~18:00 【定休日】土・日・祝

KEI-55



●

We chase the *miracles* of science to improve people's lives

私たちは人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求します。

●

サノフィ株式会社

〒163-1488 東京都新宿区西新宿三丁目20番2号 東京オペラシティタワー

www.sanofi.co.jp

sanofi

情熱の先にあるのは より良い治療法の実現

アミカスは、希少疾患とともに
生きる患者さんの生活の質を
より良くすることを使命としています。



FABRY FACTS

医療従事者向けファブリー病情報サイト

ファブリーファクト

検索

**FABRY
CONNECT**

患者さん向けファブリー病情報サイト

ファブリーコネクト

検索

 **Amicus**
Therapeutics®

最先端の治療法で希少疾患に挑む

アミカス・セラピューティクス株式会社

医薬品を通して人々の健康に貢献するために

JCRは、長年にわたって、希少疾病用医薬品の開発に取り組んでいます。治療薬を待ち望む多くの患者の皆さんと家族の思いに一日も早く応えるため、独自のバイオ技術、細胞治療・再生医療技術を活かした付加価値の高い新薬の開発を進めています。



希少疾病に、
JCRのできること。



JCRの医薬品を、
世界中の患者の皆さんへ。





ミニ勉強会

～軽やかに生きるために～



美味しいお菓子をご用意してお待ちしています。

日時：11月20日（月）13：00～15：00

場所：ふくろうの会 青山オフィス

住所：東京都港区赤坂 8-5-9-305 秀和坂町レジデンス

参加申込：メール farfalle2023.11@gmail.com

参加希望の旨をコチラのメールアドレスまでお知らせ下さい。申込みフォームをお送りします。

第58回北海道医学会市民公開シンポジウム

※障がいと共に生きる

日時：10月28日（土）13：00～15：00

Zoomによるオンラインで開催されます。

シンポジウムの第二部「障がいの付き合い方」では、

当会会長の原田が「内部障がいを持つ場合」について講演をします。

（申込期限）10月25日（水）まで こちらのQRコードから予約出来ます。▶



ふくろう通信

2023年10月号（秋）10/15発行

[1・4・7・10月15日発行]

編集長 桑原 裕司

編集員 矢田 陽子 郭 育子 岡田 利江

倉知 佳徳 岡田 正恵

発行人 原田 久生

印刷所 大圏社 〒101-0024 東京都千代田区神田和泉町 2-33

ホームページ <http://www.daikensha.com>

定期購読に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00

内容に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00

広告に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00

*法律で認められた場合をのぞき、本誌からの無断転載及びコピーを禁止します。

ふくろう通信



10月号
(通算67号)

一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会
<別称> ふくろうの会 (JFA)

Japan Fabry Disease Patients and Family Association

【事務所】

〒107-0052 東京都港区赤坂 8-5-9-305
秀和坂町レジデンス

TEL&FAX：03-5786-1551

<http://www.fabrynet.jp>

全国ファブリー病患者と家族の会

Japan Fabry Disease Patients
and Family Association



定価：500円（税込）発行：2023年10月15日（日）