

高度姿勢変換機能付き電動車椅子「Hineru（ハイネル）」の
医療経済評価に関する
フィージビリティスタディ

2026 年 3 月
株式会社 The Elements

目次

要約	4
第 1 章 はじめに	6
1.1 重度神経筋疾患患者における日常生活上の困難	6
1.2 支援技術による解決策	6
1.3 経済評価の必要性	7
第 2 章 分析方法	8
【第一層】パイロット研究に基づく実測データの分析	8
1. パイロット研究による Hineru の効果の探索的評価	8
1.1 研究の背景と目的	8
1.2 研究参加者	9
1.3 測定項目	10
1.4 長期的効果	12
【第二層】長期推計モデルに基づく費用対効果分析	12
2. 対象集団	12
3. 分析の立場	13
4. 比較対照	13
5. 分析手法	14
6. 分析期間	14
7. 効果指標：QALY	14
7.1 人工呼吸器非依存状態の効用値	14
7.2 人工呼吸器依存状態の効用値	15
7.3 Hineru 使用による改善幅と感度分析	16
7.4 最終的な効用値パラメータと限界	16
8. データソース	17
9. 費用	17
9.1 生産性損失	17
9.2 機器費用	19
9.3 その他の前提	20

9.4 費用評価の限界.....	20
10. 割引	20
11. モデル分析	20
11.1 健康状態の定義.....	20
11.2 初期状態分布.....	20
11.3 状態遷移確率.....	21
12. 不確実性の取り扱い.....	22
12.1 一元感度分析.....	22
12.2 確率的感度分析.....	23
12.3 分析の限界.....	24
第3章 結果	26
1. ベースケース分析の結果.....	26
2. 感度分析の結果	26
2.1 一元感度分析.....	26
2.2 確率的感度分析.....	27
第4章 考察	30
1. 単一症例データから得られた知見.....	30
2. 長期推計の解釈	31
3. 政策的含意と今後の研究の方向性.....	31
第5章 結論	33
謝辞	34
利益相反	34
【引用文献】	34

【図表目次】

表 1 研究参加者概要.....	9
表 2 就労時間帯（3 時間）における介助の実測値	11
表 3 比較対照群と介入群の特徴.....	13
表 4 SMA 患者における人工呼吸器依存と QOL の関係に関する文献検討	15
表 5 人工呼吸器依存別、年齢階級ごとの効用値パラメータ.....	16
表 6 年齢階級別 本人の生産性向上評価.....	18
表 7 介助者の年間時間節約価値.....	19
表 8 一元感度分析パラメーター一覧.....	22
表 9 長期推計モデルによる費用対効果分析の基本結果.....	26

図 1	一元感度分析の結果.....	27
図 2	費用効果平面.....	28
図 3	費用効果受容曲線.....	29

要約

背景・目的：脊髄性筋萎縮症（SMA）Ib型長期生存者は、座位保持能力を持たない non-sitter 患者であり、頻繁な姿勢変換を必要とする。従来の座位保持方法（介助式車椅子や標準的な電動ティルト・リクライニング車椅子など、三次元姿勢変換機能を持たない車椅子）では、自律的な三次元姿勢変換ができないため、他者に依存した頻繁な姿勢変換が必要となり、その度に作業が中断される。その結果、学習や就労において生産性上の課題を抱え、長時間の集中を要する活動に支障をきたしている。高度姿勢変換機能付き電動車椅子 Hineru は、利用者が自律的に三次元的な姿勢変換を行えることで、活動の継続性を確保し、この課題の解決が期待される。しかし、non-sitter 患者を対象とした高度姿勢変換機能付き電動車椅子の経済評価研究は、国内外を通じてほとんど存在しない。本研究は、SMA Ib型長期生存者を対象に、Hineru 機能の追加的価値を費用対効果の観点から探索的に評価することを目的とした。

方法：当初2名の SMA Ib型患者（13歳、29歳）を対象としたパイロット研究を計画したが、若年患者（13歳）が物理的制約（大きさ、重量）や生活環境との適合性の問題から継続使用に至らず、最終的に6ヶ月間の効果測定データが得られたのは1名（29歳、就労中）のみとなった。両名とも、介助式車椅子を使用しており、長時間の学習・就労は臥位で行わざるを得ない状況であった。

このため、本研究は以下の二層構造による探索的評価となった。第一層として、単一症例（患者B、29歳）から得られた6ヶ月間の実測データ（QOL変化、姿勢変換頻度、介助時間、生産性への影響）を記述的に分析した。第二層として、実測データと文献値を組み合わせたマルコフモデルにより、生涯費用対効果を推計した（13-100歳、87年間）。比較対照は、三次元姿勢変換機能を持たない従来の姿勢変換方法とし、Hineru 機能の追加的費用と効果を評価した。分析視点は社会的視点を採用し、医療費、介助費用、生産性損失を包括的に評価した。

結果：6ヶ月間の実測データ（患者B、n=1）では、健康関連 QOL が 0.159 から 0.290 へ改善（+0.131）し、特に「痛み/不快感」次元で大幅な改善が見られた（EQ-5D-5L のレベル4「かなりの痛みや不快感がある」→レベル1「痛みや不快感はない」）。患者は「痛みや不快感を感じる前に、自分のタイミングで姿勢を調整できるようになり、痛みそのものを予防できるようになった」と説明した。また、就労時間帯3時間における介助時間が平均 55.5 分削減された（年間就労日数 245 日換算で年間 226.6 時間相当）。この介助時間の削減は、作業中の中断の減少を通じた生産性向上として患者に体験された。患者は6か月後、（介助時間の削減を通じて）「最も重要なのは、作業中の中断が減ったこと」「自分の意思で身体を動かし、自分で何かをコントロールできること自体が、数値

以上に大きな意義がある」と報告した。

長期推計モデルによる費用対効果分析では、Hineru は従来の姿勢変換方法と比較して約 318 万円の増分費用（Hineru 機能の追加費用およびメンテナンス費用から生産性向上便益を差し引いた純増分費用）で 2.32 QALY の効果改善を達成し、増分費用効果比（ICER）は約 137 万円/QALY となった。これは仮に日本の医療経済評価における一般的な支払意思額閾値（500 万円/QALY）と比べてみた場合、費用対効果に優れた介入と評価される。

結論：本研究は、単一症例の短期データ（6 ヶ月）に基づく探索的評価であり、効果の一般化可能性・長期持続性には大きな不確実性が伴う。また、長期推計は複数の仮定（効果の持続、年齢層への外挿、就労前提など）に依存しており、これらは直接的な検証データによって裏付けられていない。

ただし、本研究の探索的知見は、Hineru を補装具費支給制度の対象とする政策判断に資するエビデンスを提供し得る。主要な効果（生産性向上）は、補装具費支給事務取扱指針に定める支給目的、すなわち「身体障害者の職業その他日常生活の能率の向上を図ること」および「身体障害児については、将来、社会人として独立自活するための素地を育成・助長すること」に資するものである(1)。希少疾患における支援機器の経済評価研究がほぼ存在しない現状において、本研究は小規模パイロット研究と保守的な経済評価を組み合わせることで、政策判断のための予備的エビデンスを提供できる可能性を示した。今後、より大規模な検証研究によるエビデンスの強化が必要である。

第1章 はじめに

1.1 重度神経筋疾患患者における日常生活上の困難

重度の神経筋疾患患者、特に体幹保持能力を持たない non-sitter 患者は、日常生活において長時間の座位保持に伴う多くの困難に直面している。これらの患者は筋力低下により自力での姿勢変換が困難であり、同一姿勢を持続することで身体の特定位に持続的な圧迫が加わる。その結果、疼痛、不快感、循環障害、さらには褥瘡のリスクが生じる。

筋力低下が重度である場合、長時間同じ姿勢が続くことにより、血流の滞り、手足の冷えやむくみ、筋緊張といった症状が生じやすくなる。これらを軽減するために、介助者が手足を揉む・擦る・振るといったマッサージ的ケアや、他動的な関節運動を行うことが一般的に必要とされる。こうしたケアは患者の身体的な不快感を和らげる上で重要である一方、介助者の時間と労力を要するものであり、患者・介助者双方にとって継続的な負担となっている。

現在車椅子に広く普及しているティルト機能とリクライニング機能は、座面全体を後方に傾ける(ティルト)、あるいは背もたれ角度を変える(リクライニング)ことで、臀部や背部への圧迫を一時的に軽減する。しかしながら、これらの機能は左右対称的な動きに限定されており、身体に非対称性や変形を有する患者に対しては十分な対応ができない場合がある。患者の中には食事などの短時間の活動では車椅子上で過ごすものの、長時間の集中を要する学習や就労などの活動は、車椅子上では適切な姿勢保持が困難なため、布団やソファなどで臥位を取らざるを得ない状況もある。

その結果、患者は頻繁に介助者に姿勢変換を依頼する必要がある、度重なる介助依頼は患者の自律性を損ない、介助者にとっても負担となる。さらに、「もう少し前に」「もっと」といった抽象的な指示のやり取りは、患者と介助者双方にとってストレスとなり、望む姿勢を得るまでに時間を要する。

このような姿勢変換の制約は、単に身体的不快にとどまらず、学習や就労における生産性に課題をもたらす重要な要因にもなっている。頻繁な姿勢変換のために作業を中断し、介助者を呼び、調整を待つというプロセスは、活動の継続性に支障をきたす。

1.2 支援技術による解決策

こうした課題に対し、自律的で細やかな姿勢変換を可能にする支援技術(Assistive Technology: AT)を用いた介入が期待されている。

株式会社コボリンが開発した Hineru(ハイネル)は、従来の電動ティルト・リクライニング機能に加え、側屈(左右に傾ける)、回旋(上半身をひねる)、伸展(身体を伸ばす)という三次元的な姿勢変換機能を搭載した電動車椅子システムである。最大の特徴は、左右非対称な動きを組み合わせることで、個々の身体特性に合わせた微細な姿勢変換が可能である点にある。利用者は手元のスイッチ操作により、自律的に姿勢を変

換できる。スイッチは個々の残存機能に応じてカスタマイズ可能であり、最大3つの姿勢をメモリー機能に記憶させることで、望ましい姿勢を瞬時に再現できる。製品導入事例においては「姿勢を直す必要がなくなった」「人に頼む必要がなくなり”もどかしさ”から解放された」「時間の自由がきくようになった」といった主観的評価が得られている(2)。

1.3 経済評価の必要性

本研究は、脊髄性筋萎縮症(SMA)Ib型の長期生存者を対象として、Hineruの費用対効果を探索的に評価するフィージビリティスタディである。

SMAの国際分類Type I（座位不可）は、日本の診療ガイドラインでは亜型としてIa型とIb型に細分化されている(3)。近年、疾患修飾療法(Disease-Modifying Treatment: DMT)の登場により、Type I患者の予後が改善し、長期生存する患者が出現している。こうした患者に対する座位保持装置や電動車椅子の基本的な有用性は広く認められているものの、Hineruのような高度な姿勢変換機能（側屈・回旋・伸展）の追加的価値について、non-sitter患者を対象とした経済評価研究は国内外を通じてほとんど存在しない。DMTの普及によりType I患者の長期生存が増加する中で、学習や就労における生産性向上が重要な課題となっており、こうした支援機器による介入の経済的価値を示すことは、補装具費支給制度などの政策判断にも資するエビデンスとなりうる。

第2章 分析方法

本研究の経済評価は、以下の二層構造をとる：

第一層：パイロット研究に基づく実測データの分析

6ヶ月間のパイロット使用から得られた実測データ（QOL 変化、姿勢変換頻度、介助時間、生産性への影響等）を記述的に分析する。これらは単一症例から得られた短期データであり、結果の解釈には慎重を要するが、実使用環境における効果の定量的評価として価値を持つ。

第二層：長期推計モデルに基づく費用対効果分析

パイロット研究で得られたデータと文献値を組み合わせ、マルコフモデルを用いて生涯にわたる費用対効果を推計する。これは複数の仮定に基づく推計であり、探索的評価としての性格を持つ。結果は第3章で示す。

以下、第一層でパイロット研究の方法と結果を、第二層で長期推計モデルの構造とパラメータ設定を説明する。

【第一層】パイロット研究に基づく実測データの分析

1. パイロット研究による Hineru の効果の探索的評価

1.1 研究の背景と目的

Hineru の費用対効果分析モデルを構築するにあたり、実際の使用環境における効果と使用パターンを把握する必要がある。特に、どのような効果が短期的に測定可能か、どのような効果が長期観察を要するかを明らかにすることは、モデル構造とパラメータ設定の基礎となる。

そこで本研究では、費用対効果分析の事前準備として、SMA 1b 型の長期生存者 2 名（13 歳、29 歳）に 6 ヶ月間、実際に Hineru を使用してもらい、使用に伴う行動変容、QOL の変化、および介助状況の変化を観察する計画を立てた。

なお、研究参加者は、SMA を専門とする理学療法士を通じて募集した。研究開始前に、本人または保護者に対して研究・プロジェクトの目的、協力依頼内容、個人情報の取扱い等を書面または口頭で説明し、十分な理解を得た上で同意を取得した。また、同意後であっても随時撤回可能であること、ならびに不参加や同意撤回による不利益が一切生じないことを明示した。

1.2 研究参加者

1.2.1 参加者概要

両患者とも、座位保持能力を持たない non-sitter であり、DMT を使用している。

表 1 研究参加者概要

項目	患者 A	患者 B
年齢・性別	13 歳・女性	29 歳・男性
SMA Type	1b	1b（診断時は 2 型だったが、現在は座位保持ができず機能的には 1b 型相当と SMA を専門とする理学療法士が判断）
運動機能	Non-sitter	Non-sitter
呼吸管理	人工呼吸器非依存*	人工呼吸器非依存*
生活状況	中学校在学中	大学勤務（自宅）
現状の姿勢保持方法	ティルト機能付き介助式車椅子＋臥位（外出時は簡易電動機能を付ける）	リクライニング機能付き介助式車椅子＋臥位（外出時は電動車椅子）
介助環境	学校：ヘルパー 自宅：両親	自宅：ヘルパー

*人工呼吸器非依存：夜間または必要時のみの非侵襲的換気（Non-Invasive Ventilation :NIV）使用。

費用対効果分析においては、パイロット研究で得られた実測データを主要なパラメータとして使用し、文献データは補助的に用いる。これは、既存の国際文献が Type I を対象としていても、1b 型長期生存者に特化したデータではなく、対象集団の特性が異なる可能性があるためである。

なお、研究参加者は、SMA を専門とする理学療法士を通じて募集した。研究開始前に、本人または保護者に対して研究・プロジェクトの目的、協力依頼内容、個人情報の取扱い等を書面または口頭で説明し、十分な理解を得た上で同意を取得した。また、同意後であっても随時撤回可能であること、ならびに不参加や同意撤回による不利益が一切生じないことを明示した。

1.2.2 参加者の期待

【患者 A（13 歳、学生）】

患者本人：「痛くなる前に動かすこともでき、授業に長く集中できる」

保護者：「自分で姿勢を調整できることで、本人からのリクエスト（『腰を後ろに』『足を出して』等）に応じる頻度が減少し、周囲の介助負担も軽減される」「お尻が痛くないため長時間座位が可能となり、学習への集中が維持されると良い」

患者 A は継続使用には至らなかったが、これらの期待は分析における効果推定の根拠として活用した（後述）。

【患者 B（29 歳、就労中）】

患者本人：「使用前は 5 分程度で姿勢の不快感が生じ、1 時間あたり数回の姿勢変換指示を必要としていた。Hineru 導入後は、姿勢変換指示の頻度は 1 時間あたり 1-2 回程度に減少する」「毎日在宅勤務するが、従来は同じ姿勢が 5 分ともたず、姿勢変換の度に集中が途切れていた。Hineru により 1 時間連続して集中できるようになる。就労環境改善、すなわち生産性の向上こそが最も重要な効果である」

しかしながら、研究開始後、若年患者（13 歳）については、Hineru の物理的制約（大きさ、重量）や生活環境との適合性の問題から継続使用には至らず、6 ヶ月間の測定データが得られたのは 1 名（29 歳）のみとなった。

1.3 測定項目

1.3.1 健康関連 QOL

EQ-5D-5L 日本語版を用いて、使用前および使用 6 ヶ月後に QOL を測定した。EQ-5D-5L は 5 つの健康次元（移動の程度、身の回りの管理、ふだんの活動、痛み/不快感、不安/ふさぎこみ）をそれぞれ 5 段階で評価する国際的に標準化された QOL 測定ツールであり、日本版効用値換算表(4)により 0（死亡）から 1（完全な健康）までの効用値に変換される。本研究での採用理由は、①国際的標準性（他の介入や疾患との横断的比較が可能）、②政策評価との整合性（日本の医療技術評価ガイドラインで推奨）、③日本版効用値換算表の整備、である。

測定結果は以下の通りである：

- 患者 A（13 歳）：使用前 0.476（継続使用に至らなかったため使用後測定なし）
- 患者 B（29 歳）：使用前 0.159 → 使用後 0.290（+0.131）

患者 A のベースラインデータ（0.476）は使用後の測定には至らなかったものの、より若年の 1b 型患者における QOL 水準を示す貴重なデータポイントとして、長期推計モデルのパラメータ設定に活用した。

患者 B では特に「痛み/不快感」次元で大幅な改善が見られた（レベル 4「かなりの痛みや不快感がある」→レベル 1「痛みや不快感はない」）。患者 B は「これまでは痛みや不快感を感じてから、介助者のタイミングも見計らって姿勢変換を依頼していた。しかし Hineru を使うことで、痛みや不快感を感じる前に、自分のタイミングで姿勢を調整できるようになった。これにより、痛みそのものを予防できるようになった」と説明した。さらに、「生まれてから自分から何かをできたことがほとんどない中で、自分の意思で身体を動かし、自分で何かをコントロールできること自体が、数値以上に大きな意義がある」と述べ、自己決定と自律性の獲得という質的な変化を強調した。

1.3.2 日常生活における姿勢変換と介助の記録

1.2.2 で述べた患者 B の期待を踏まえ、就労時間帯（15 時～18 時の 3 時間）を測定窓として設定した。これは、就労中が最も姿勢変換の負荷が高い時間帯であるという患者本人の判断に基づく。なお、就労時間は他の時間帯に及び 3 時間を超える場合も多いことから、本測定は保守的な推計に相当し、実際の効果はこれを上回る可能性がある。測定は、Hineru の使用に十分慣れた 6 か月間の使用後に、従来の姿勢変換方法を用いた日と Hineru を使用した日をそれぞれ 2 回ずつ設け、担当ヘルパーに介助回数、各介助における変換箇所数、各介助に要した時間を記録してもらった。なお、ごく短時間で終了した姿勢変換については複数回の実測値を参照した上で平均 5 秒として計算し、揉む・擦る・振るといった比較的長時間を要するケアについてはその都度分数を記録した。測定結果は以下の通りである（表 2）。

表 2 就労時間帯（3 時間）における介助の実測値

	従来の姿勢変換方法			Hineru		
	1 回目	2 回目	平均	1 回目	2 回目	平均
介助回数	20	28	24	14	12	13
介助のべ箇所数	49	95	72	27	37	32
介助ごとの平均箇所数	2.5	3.4	3.0	2.1	3.1	2.6
介助総時間（秒）	5,200	2,775	3,988	70	1,245	658
介助総時間（分）	86.7	46.3	66.5	1.2	20.8	11.0

従来の姿勢変換方法の変動（46.3 分～86.7 分）は測定日ごとの体調やヘルパーの違いを反映していると考えられる。Hineru の 2 回目（20.8 分）については、測定日が寒冷であり、暖を取るための擦るケアが生じたことが主因である。ベースケース分析では各条件の平均値（従来法 66.5 分、Hineru 11.0 分、差 55.5 分）を使用し、感度分析で実測の変動幅をカバーする。

Hineru の使用により介助時間が大幅に削減された要因として、介助回数の減少に加え、介助の内容としてマッサージ的ケア（揉む・擦る・振る等）がほぼ不要になったことが特に大きかった。SMA の患者では、筋力低下により自力で体を動かすことが難しく、長時間同じ姿勢が続きやすくなる。その結果、血流の滞り、手足の冷えやむくみ、筋緊張、不快感などが生じやすく、これらを軽減するために、介助者が手足を揉む・擦る・振るといったケアや、他動的な関節運動を行うことが一般的に必要とされる。しかし、高度な姿勢変換機能を備えた電動車椅子を使用することで、本人が自ら頻繁に姿勢を変えられるようになると、圧の分散や血流改善が促され、不快感や冷え・むくみが大幅に軽減され、その結果、従来必要であった手足のマッサージや他動運動などのケアがほとんど不要になったと考えられる。患者 B も同様の見解であった。

また、患者 B は「最も重要なのは、作業中の中断が減ったこと。これまでは集中して仕事をしている最中でも、姿勢が辛くなれば介助者を呼んで作業を中断せざるを得なかった。Hineru を使うと、自分で姿勢を調整しながら作業を継続できるため、連続して集中

できるようになった」と述べた。

一方、患者 B は「介助回数が減ったとしても、Hineru の重量や大きさにより新たな介助の手間が発生した。介助者の体制は変わらず、ヘルパー人件費が削減されるわけではない」とも報告しており、介助時間の削減が直接的な介助体制の変化には結びつかないことが示された。患者 A の保護者が導入初期に「保護者の付き添いも不要になる可能性がある」との期待を示していたことと対照的であり、介助環境（公的ヘルパー vs 家族介助）や患者の依存度により影響が異なる可能性が示唆される。

1.4 長期的効果

6 ヶ月間の短期観察のため、以下の長期的効果は評価できていない：

- 側弯進行の抑制（側弯角度は測定していない）
- 呼吸機能の維持（肺機能検査は実施していない）
- 呼吸器合併症の減少（観察期間中、誤嚥性肺炎等のイベントなし）

SMA 専門の理学療法士からは、長期的には拘縮・変形の抑制、それに起因する二次的合併症の減少への効果が理論的には期待されるとの意見が得られたが、6 ヶ月の観察期間では検証できなかった。

【第二層】長期推計モデルに基づく費用対効果分析

以下のセクションでは、パイロット研究で得られた実測データと文献値を組み合わせ、マルコフモデルを用いた生涯費用対効果の推計方法を説明する。これは単一症例から得られた短期データを長期的な効果に外挿するものであり、複数の仮定に基づく推計である点に留意されたい。

2. 対象集団

長期推計モデルにおける対象集団は、パイロット研究参加者と同様に、SMA 1b 型の長期生存者であり、自力での座位保持や姿勢変換が不可能であり座位保持装置や介助者による調整が必要である患者とした。

また、仮想コホートの開始年齢は、①Hineru の複雑な機能（三次元的姿勢変換、メモリー機能等）を理解し自律的に使用できる認知的成熟や、②より長時間の集中を要する活動が増加し、将来の高等教育や就労に直結する時期を考慮して、13 歳に設定した。

3. 分析の立場

本分析は「社会の立場」から実施した。これは、公的医療保険、障害福祉サービス（補装具費支給、居宅介護等）、さらには生産性損失まで含めた、社会全体が負担する費用と効果を評価する立場である。パイロット研究により、HineruにはQOL向上、生産性向上、介助負担軽減など、多面的な便益が存在することが明らかになったことが主な理由である。

ただし、従来の姿勢変換方法（比較対照群）とHineru（介入群）で同等と想定される費用項目については相殺し、Hineru機能に直接関連する増分費用を評価した（詳細は9. 参照）。

4. 比較対照

本研究では、以下の2つの戦略を比較した。

表 3 比較対照群と介入群の特徴

項目	従来の姿勢変換方法 （比較対照群）	Hineru （介入群）
姿勢変換の機能	三次元姿勢変換機能なし（介助式車椅子、電動ティルト・リクライニング車椅子など）	三次元姿勢変換機能あり（側屈・回旋・伸展）
姿勢変換の実施主体	介助者	利用者
姿勢変換のタイミング	事後的（不快感を訴えた後、または定期的スケジュール）	予防的（疼痛や不快感を感じる前）
姿勢変換の自由度	左右対称的な動きに限定	三次元的な非対称姿勢変換により、個別の身体特性に対応した微細な調整が可能

【共通の前提条件】

両群ともに、標準的な医療管理（呼吸管理、栄養管理、リハビリテーション等）を継続的に受けるものとした。

【比較の焦点】

本比較により、姿勢変換機能の質的拡張（左右対称→三次元）と実施主体の転換（介助者依存→利用者主体）が、以下の項目に与える影響を評価することができる：

- 健康関連 QOL：疼痛・不快感の軽減、自律性の向上
- 介助負担：姿勢変換依頼頻度の減少（ただし、介助体制は変化しないと想定）

- 生産性：学習・就労時の中断時間の削減

5. 分析手法

本研究では、SMA 1b 型長期生存者（13 歳以上）を対象とした費用効果分析（Cost-Effectiveness Analysis: CEA）を実施した。効果を金銭換算せず、費用と効果を別々に集計し、「従来の姿勢変換方法」に対して「Hineru」がどれだけ期待費用と期待効果を増やすかを算出することで、増分費用効果比（Incremental Cost-Effectiveness Ratio: ICER）を算出した。

6. 分析期間

本研究では、生涯を分析期間とした。仮想コホートの開始年齢を 13 歳とし、100 歳までの 87 年間でモデル化した。これは、SMA 患者を対象とした費用対効果分析(5, 6)と同様のアプローチを採用した。

7. 効果指標：QALY

効果指標には質調整生存年（Quality-Adjusted Life Year: QALY）を用いた。QALY は、健康状態の質（効用値）と生存年数を組み合わせた指標であり、異なる介入の効果を統一的に比較できる。

以下、人工呼吸器非依存状態と人工呼吸器依存状態に分けて、QALY 算出のための効用値のパラメータ設定方法を説明する。

7.1 人工呼吸器非依存状態の効用値

7.1.1 実測値と既存文献との比較

パイロット研究で測定した EQ-5D-5L 値は以下の通りである：

- 患者 A（13 歳）：使用前 0.476（患者離脱により使用後測定なし）
- 患者 B（29 歳）：使用前 0.159 → 使用後 0.290（+0.131）

国内外において SMA 1b 型を含む I 型長期生存者を対象とした EQ-5D 測定研究は極めて限られており、乳幼児期が主な対象で、年齢情報の欠如や代理回答が多い。患者 A・B ともに SMA I 型の同年代におけるデータが存在しないため、本研究で直接測定した貴重なデータとしてそのまま採用した。

7.1.2 年齢別ベースライン効用値の設定

患者 A（13 歳、0.476）と患者 B（29 歳、0.159）の差異（0.317）が年齢による QOL 変化を反映しているのか、個人差を反映しているのかを判別することはできない。しかし、

実際に、患者 B（29 歳）は患者 A（13 歳）よりも疾患進行が進んでおり、実測 QOL も低値であった。

これらを踏まえ、ベースケース分析では、13 歳から 29 歳にかけて段階的に QOL が低下すると仮定し、以下のように設定した：

- 13-14 歳：0.476（患者 A 実測）
- 15-19 歳：0.397（線形補間）
- 20-24 歳：0.317（線形補間）
- 25-29 歳：0.238（線形補間）
- 30 歳以降：0.159（患者 B 実測、以降維持）

30 歳以降も 0.159 を維持すると仮定した理由は、実測データが 29 歳時点しか存在せず、30 歳以降のさらなる QOL 低下を仮定する根拠も乏しく、また、適切な医療管理の下で一定の機能レベルが維持される可能性があると考えたためである。

7.2 人工呼吸器依存状態の効用値

本研究の 2 名の患者は測定時点で人工呼吸器非依存状態であった。一方で、マルコフモデルでは「人工呼吸器非依存」「人工呼吸器依存」の健康状態を想定するため、人工呼吸器依存状態の効用値を文献に基づき推定する必要がある。

7.2.1 人工呼吸器非依存状態からの減少率の設定

SMA 患者における人工呼吸器依存と QOL の関係について文献検索を実施した結果、以下の 2 研究が見つかった：

表 4 SMA 患者における人工呼吸器依存と QOL の関係に関する文献検討

研究	対象	評価者	人工呼吸器 非依存	人工呼吸 器依存
Lloyd et al. (2019)(7)	SMA Type I	臨床専門家	-0.12	-0.33
Hu et al. (2022)(8)	SMA Type I	小児神経科医	0.29	0.19

いずれも患者本人測定ではなく専門家評価であり、幼児期発症患者を想定している。本研究の対象（13 歳以降の SMA Type I 長期生存者）におけるデータは国際的にも報告されていない。

Lloyd et al. (7) のベースライン（-0.12）は負の効用値であり、本研究の患者 A・B の値と大きく乖離しているため、13 歳以上の長期生存者への適用は不適切と判断した。

Hu et al. (8) のデータ（0.29→0.19、66%に減少）は、より妥当な範囲にあり、呼吸状態変化に伴う効用値減少の比率として参考にできると考えた。

そこで、Hu et al.で観察された減少率（人工呼吸器依存状態が人工呼吸器非依存状態の約 66%）を、本研究で実測した患者 A・B の人工呼吸器非依存状態の効用値に適用し、人工呼吸器依存状態の効用値を推定した。

7.2.2 感度分析

この減少率（66%）は幼児期患者を対象とした研究から得られたものであり、13 歳以上の長期生存者に適用する際の不確実性は大きい。そのため、以下の感度分析を実施する：

- QOL 減少率を 50%とした場合
- QOL 減少率を 80%とした場合

これにより、人工呼吸器依存状態の効用値推定の不確実性が費用対効果に与える影響を評価する。

7.3 Hineru 使用による改善幅と感度分析

7.3.1 改善幅の設定

患者 A の離脱により、Hineru 使用による QOL 改善は患者 B（n=1）のデータのみから推定される：

患者 B：+0.131（使用前 0.159 → 使用後 0.290）

ベースケース分析では、この改善幅（+0.131）が全年齢層、かつ人工呼吸器依存・非依存に関わらず同等に得られると仮定する。すなわち、Hineru の相対的な効果は年齢や呼吸状態によらず一定と仮定する。

7.3.2 感度分析

n=1 のデータに基づく QOL 改善幅の不確実性を評価するため、以下の感度分析を実施する：

- QOL 改善幅を+0.066（観測値の 50%）とした場合
- QOL 改善幅を+0.197（観測値の 150%）とした場合

これにより、効果推定の不確実性が費用対効果に与える影響を評価する。

7.4 最終的な効用値パラメータと限界

7.4.1 パラメーター一覧

上記の設定に基づく、最終的な効用値パラメータは以下の通りである：

表 5 人工呼吸器依存別、年齢階級ごとの効用値パラメータ

健康状態	年齢	従来の姿勢変換方法	Hineru
人工呼吸器非	13-14 歳	0.476	0.607

依存	15-19 歳	0.397	0.528
	20-24 歳	0.317	0.448
	25-29 歳	0.238	0.369
	30 歳以降	0.159	0.290
人工呼吸器依存	13-14 歳	0.314	0.445
	15-19 歳	0.262	0.393
	20-24 歳	0.209	0.340
	25-29 歳	0.157	0.288
	30 歳以降	0.105	0.236

7.4.2 推定の限界

これらの効用値設定には複数の限界がある。n=1 のデータに基づく推定、未成年期への外挿、文献値の応用など、個別の限界については 12.3 で包括的に議論する。

8. データソース

本分野では高いエビデンスレベルの研究が非常に少ないため、パイロット研究、文献レビュー、関連する公的統計を組み合わせてデータを収集した。

文献レビューについては、包括的な文献検索を実施した。査読付き文献については、PubMed、医中誌 Web を用い、関連する臨床的・経済的研究を抽出した。査読のない文献については、政府機関、業界団体、学会等が作成した報告書や技術資料を対象として、自由語検索にて文献収集を実施した。さらに、主要論文を起点とした前方・後方引用検索により、初期検索結果を補完した。

9. 費用

9.1 生産性損失

9.1.1 パイロット研究から得られた知見

患者 B から得られた知見：

- 就労時間帯（3 時間）における姿勢変換介助時間が大幅に削減され（従来の姿勢変換方法平均 66.5 分→Hineru 平均 11.0 分、差 55.5 分）、就労中の作業中断が減少することで生産性が向上した
- 一方、日常生活動作（移乗、排泄、食事等）の介助は依然として必要であり、公的ヘルパーの派遣時間に変化はなかった

患者 A から得られた知見：

- 患者 A は継続使用に至らなかったが、保護者からは「姿勢変換介助の削減」への期待が示された

9.1.2 評価方針の設定

上記の知見に基づき、以下の方針で費用評価を実施した：

成人期（19 歳以降）：本人の生産性向上として評価

- 患者 B の実測データ（就労時間帯 3 時間における介助時間削減 55.5 分）を使用。年間就労日数 245 日として換算すると、年間 226.6 時間の削減に相当する。なお、就労時間は測定窓（3 時間）を超える場合もあることから、本推計は保守的な値である。

未成年期（13-18 歳）：保護者の介助時間削減即ち時間節約として評価

- 患者 B のデータを外挿（Hineru 機能による姿勢変換介助削減効果は介助者の属性によらず同等と仮定）。なお、患者 B（公的ヘルパー利用）の場合、介助回数が減少してもヘルパーの派遣体制は変化しないため、ヘルパー人件費の削減は生じない。一方、未成年期の主介助者である保護者の場合、常時患者のそばで対応する必要があるという点は変わらないが、姿勢変換介助に費やす時間が減少することで、その時間を就労や他の活動に充てることが可能となる。この時間の機会費用を保護者の時間節約として評価した。
 - 未成年期の本人の学習時間増加による将来的な賃金向上効果も検討し得るが、複数の仮定が必要であり、直接的なエビデンスも不十分であるため、評価しなかった。
- なお、人工呼吸器依存状態への移行後も、Hineru による介助時間削減効果は変わらないと仮定した。姿勢変換は呼吸状態に関わらず必要な基本的ケアであり、Hineru の自律的な変換機能は呼吸器使用下でも有効と考えられる。

9.1.3 経済価値への転換

(1) 成人期（19 歳以降）：本人の生産性向上

年齢別の平均時間賃金を用いて評価した（賃金構造基本統計調査(9)、令和 5 年、月額給与を月平均所定内実労働時間数 173.8 時間で除して算出）：

表 6 年齢階級別 本人の生産性向上評価

年齢層	月額給与	時間賃金	年間生産性向上
～19 歳	190.0 千円	1,093 円/時間	247,749 円/年
20-24 歳	224.6 千円	1,292 円/時間	292,865 円/年
25-29 歳	258.3 千円	1,486 円/時間	336,808 円/年
30-34 歳	286.0 千円	1,646 円/時間	372,927 円/年
35-39 歳	314.8 千円	1,811 円/時間	410,481 円/年
40-44 歳	338.8 千円	1,949 円/時間	441,775 円/年
45-49 歳	355.7 千円	2,047 円/時間	463,812 円/年

50-54 歳	371.1 千円	2,135 円/時間	483,893 円/年
55-59 歳	376.4 千円	2,166 円/時間	490,804 円/年
60-64 歳	(376.4 千円)	2,166 円/時間	490,804 円/年

注記：

- 60-64 歳は、統計では賃金が低下するが (305.9 千円)、本研究では保守的に 55-59 歳の値を継続使用。65 歳以降は就労を想定しないため、生産性向上効果はゼロ
- 時間賃金は分析期間中一定と仮定 (賃金上昇を考慮せず)

(2) 未成年期 (13-18 歳)：保護者の時間節約

(1)と同様に、年齢別の平均時間賃金を用いて評価した (賃金構造基本統計調査(9)、令和 5 年、月額給与を月平均所定内実労働時間数 173.8 時間で除して算出)。主介助者の年齢を、患者 13-18 歳時に 40-45 歳と想定した：

表 7 介助者の年間時間節約価値

介助者年齢	月額給与	時間賃金
40-44 歳	338.8 千円	1,950 円/時間
45-49 歳	355.7 千円	2,047 円/時間
平均	-	1,998 円/時間

年間節約価値：

- 患者 13-18 歳時：226.6 時間 × 1,998 円 = 452,794 円/年

9.2 機器費用

Hineru 機能の初期費用および年間維持費他は、コボリン社から提供された情報に基づき設定した。

- 初期費用：265 万円
- 年間維持費：72,000 円/年 (定期点検、消耗品交換等を含む)
- 耐用年数：6 年 (耐用年数経過後に初期費用が再度発生)
- 使用期間：13 歳から 64 歳まで (65 歳以降は、Hineru が価値を発揮する就労機会が減少する可能性を踏まえた)

なお、この費用は、従来の姿勢変換方法に対する Hineru 機能の追加費用である。基盤となる移動・座位保持装置の費用は両群で共通であるため、分析には含めない。ただし、対象者によって費用が異なることから、追加費用については感度分析を行う。

9.3 その他の前提

パイロット研究の結果に基づき、医療費（外来診療、入院、薬剤等）、公的介護費（公的介護保険サービス）、障害福祉サービス費（訪問介護、移動支援等）は Hineru の介入によって変化をもたらさないと判断し、分析に含めなかった。

また、主要パラメータ（機器費用、賃金）は最新の情報と公的統計に基づいているため、インフレ調整を実施していない。

9.4 費用評価の限界

本評価には、サンプルサイズの制約、未成年期への外挿、就労前提の妥当性、介助者の就労状況など、複数の限界がある。これらの詳細については 12.3 で包括的に議論する。

10. 割引

将来発生する費用と効果を現在価値に換算するため、年率 2%の割引率を適用した。

11. モデル分析

11.1 健康状態の定義

長期的な費用と効果の推計にはマルコフモデルを使用した。SMA 1b 型長期生存者の疾患進行を表現するため、「人工呼吸器非依存」「人工呼吸器依存」「死亡」の 3 つの健康状態で構成して、年次サイクルで推移を追跡した。

（1）人工呼吸器非依存：日中の呼吸補助を必要としない状態（夜間または必要時のみの NIV 使用を含む）

（2）人工呼吸器依存：日中も含めて恒常的に呼吸補助を必要とする状態

（3）死亡：吸収状態（一度到達すると他の状態へ遷移しない）

また、一度人工呼吸器依存状態に移行した患者は、人工呼吸器非依存状態に戻ることはないと仮定した。これは SMA 1b 型の進行性の性質を反映している。

11.2 初期状態分布

マルコフモデルの開始時点（13 歳）において、コホートの健康状態分布を以下のように設定した：

- 人工呼吸器非依存状態：90%
- 人工呼吸器依存状態：10%
- 死亡状態：0%

設定根拠：13 歳時点における SMA Type I 長期生存者の呼吸機能状態の分布に関する直接的なデータは存在しない。そこで、以下のアプローチにより推定した。

- 文献データの参照：Pera et al. (2024)(10)の報告では、DMT を受けた SMA Type I 患者（1a と 1b を区別せず）の平均 4 歳時点（2016 年以降出生コホート）において、人工呼吸器非依存 87.4%、人工呼吸器依存 12.6%であった。
- 13 歳時点への外挿：4 歳から 13 歳までの 9 年間に年間 1%の割合で人工呼吸器非依存から人工呼吸器依存への移行が生じると仮定した場合、13 歳時点では以下となる：
$$\text{人工呼吸器依存割合} = 12.6\% + (87.4\% \times 1\% \times 9 \text{ 年}) = 20.5\% \approx 20\%$$
$$\text{人工呼吸器非依存割合} = 87.4\% - (87.4\% \times 1\% \times 9 \text{ 年}) = 79.5\% \approx 80\%$$
- 1b 型の特性による調整：しかし、上記は Type I 全体（1a と 1b を含む）のデータである。1b 型は呼吸機能が比較的保たれるという特徴があり、1a 型と比較して人工呼吸器依存に至る割合は低いと考えられる。

上記を踏まえ、13 歳時点での人工呼吸器依存割合を 10%、人工呼吸器非依存割合を 90% と仮定した。また、この仮定値（人工呼吸器依存 10%）および外挿に用いた年間移行率（1.0%/年）を SMA を専門とする理学療法士に提示したところ、「極端に非現実的ではない範囲」との評価を得た。

本研究のパイロット研究参加者 2 名（13 歳、29 歳）はいずれも人工呼吸器非依存状態であった。これは、1b 型長期生存者の多くが人工呼吸器非依存状態を維持しているという推定と整合する。

ただし、この推定値は 1b 型に特化した文献データに基づくものではなく、Type I 全体のデータからの推論と臨床専門家の経験的見解に依存している。そのため、感度分析で初期分布を変動させる。

11.3 状態遷移確率

比較対照群と介入群で、状態遷移確率（人工呼吸器依存への進行率、死亡率）は同一と仮定した。すなわち、姿勢変換の実施主体（介助者主体 vs 利用者主体）の違いが、疾患の臨床的進行（呼吸機能、死亡）に直接的な影響を与えないと仮定した。

11.3.1 人工呼吸器非依存から人工呼吸器依存への年間移行率

- ベースケース：1.0%/年
- 感度分析範囲：0.5%-2.0%/年

設定根拠：上記 11.2.2 で述べた通り、年間 1%の移行率を仮定した。この移行率は大き

な不確実性を有するため、感度分析で広い範囲を検討する。

11.3.2 年間死亡率

死亡率は健康状態によって異なると仮定し、人工呼吸器非依存は 3%、人工呼吸器依存は 6%に設定した。

設定根拠：13 歳以降の SMA Type I 長期生存者における年間死亡率に関する直接的な文献データは存在しない。本研究では、以下に基づき推定した：

1. Pera et al.(10)のデータからの推定：

- Pera et al.(10)の Type I 全体 (1a と 1b を含む) の 0-4 歳データから推定される年間死亡率は約 4.4% (4 歳時点生存率 82.5%から算出)

2. 長期生存バイアスの考慮：

- 13 歳まで生存した患者は「長期生存例」であり、乳幼児期の高い死亡率を乗り越えているため、相対的にリスクが低いと推定
- したがって、人工呼吸器非依存状態では 4.4%よりやや低い 3%と設定

3. 人工呼吸器依存状態でのリスク増加：

- 人工呼吸器依存状態では感染症リスクや呼吸器合併症により死亡リスクが高いという臨床的知見に基づき、人工呼吸器非依存の 2 倍 (6%) と設定

4. 臨床専門家の確認：

- SMA を専門とする理学療法士に臨床的妥当性を確認し、「極端に非現実的ではない範囲」との評価を得た

これらの推定値は文献的裏付けが限定的であり、特に 1b 型に特化したデータではないため、感度分析で広い範囲を検討する。

12. 不確実性の取り扱い

本研究は、患者 B (n=1) の実測データに基づく分析であり、多くのパラメータに不確実性が存在する。この不確実性が分析結果に与える影響を評価するため、一元感度分析および確率的感度分析を実施した。

12.1 一元感度分析

各パラメータを個別に変動させ、ICER への影響を評価する。

表 8 一元感度分析パラメーター一覧

パラメータ	ベース ケース	変動範囲	根拠

効用値			
Hineru による改善効果	+0.131	+0.066-+0.197	実測値±50%
人工呼吸器依存/非依存比率	66%	50%-80%	文献値の不確実性
状態遷移率			
初期分布（人工呼吸器依存割合、13歳時点）	10%	5% - 20%	推定値の不確実性
人工呼吸器非依存→人工呼吸器依存（年間移行率）	1.0%/年	0.5% - 2.0%/年	臨床的妥当範囲
人工呼吸器非依存状態の年間死亡率	3%/年	1% - 5%/年	推定値の不確実性
人工呼吸器依存状態の年間死亡率	6%/年	3% - 10%/年	推定値の不確実性
費用			
Hineru 初期費用	265 万円	230 万円-300 万円	メーカー情報±15%
年間維持費	72,000 円	50,000 円 - 90,000 円	メーカー情報±25%
介助時間削減（全年齢）	226.6 時間 / 年	104.1 時間 - 349.1 時間 / 年	実測値の変動幅から算出
その他			
Hineru 使用期間	13-64 歳	13-84 歳	使用継続可能性

結果の提示：

Tornado diagram（トルネード図）により、ICERに最も影響を与えるパラメータを可視化する。各パラメータを変動範囲の下限値と上限値に設定した場合のICERを算出し、その変動幅の大きさを並べることで、どのパラメータが結果に最も影響を与えるかを明らかにする。

12.2 確率的感度分析

すべてのパラメータに確率分布を設定し、モンテカルロシミュレーションにより、結果の分布を推定した。

実施方法：

- シミュレーション回数：1,000 回
- 確率分布の設定：
 - 確率パラメータ：Beta 分布
 - 費用パラメータ：Gamma 分布
 - 標準偏差の設定：各パラメータの変動範囲（最大値-最小値）の約 25%に設定した。

これにより、95%信頼区間が おおよそ一元感度分析の変動範囲をカバーする分布を構成した。Beta 分布および Gamma 分布のパラメータ (α , β) は、平均値と標準偏差から TreeAge Pro により自動計算された。

結果の提示：

- 費用効果平面 (cost-effectiveness plane)：増分費用と増分 QALY の同時分布を散布図で視覚化し、95%信頼楕円を示す
- 費用効果受容曲線 (cost-effectiveness acceptability curve, CEAC)：支払意思額閾値ごとに Hineru が費用対効果に優れる確率を提示

12.3 分析の限界

上記の感度分析により多くの不確実性に対処するが、以下の根本的な限界は残存する：

(1) 効用値推定の限界

1. **サンプルサイズ**： $n=1$ という極小サンプルに基づく QOL 改善幅の推定であり、真の母集団パラメータとの乖離の可能性がある。患者 B で観察された改善効果(+0.131)が、SMA 1b 型長期生存者全体を代表するかは不明である。
2. **年齢別ベースライン QOL の推定**：2 名の患者の実測値 (13 歳：0.476、29 歳：0.159) を基に段階的な変化を仮定したものであり、実際の縦断的データに基づくものではない。
3. **人工呼吸器依存状態の効用値**：幼児期患者を対象とした文献 (Hu et al.(8)) から得られた減少率 (66%) を応用しており、13 歳以上の長期生存者における実測データではない。

(2) 費用評価の限界

4. **未成年期への外挿**：未成年期 (13-18 歳) の保護者介助時間削減は、成人期 (29 歳) の患者 B のデータを外挿したものであり、実測データではない。実際には、年齢や家族構成、介護環境により効果は異なる可能性がある。
5. **就労時間の測定窓の限定**：介助時間削減の測定は就労時間帯の 3 時間に限定しており、就労時間が 3 時間を超える日や、就労以外の時間帯における同様の効果は計上していない。このため、本推計は保守的な値であり、実際の年間削減効果はこれを上回る可能性がある。
6. **就労前提の妥当性**：成人期の評価は就労可能な患者を前提としている。患者 B は実際に就労しているが、SMA 1b 型長期生存者全体の就労率は不明である。
7. **介助者の就労状況**：保護者の実際の就労状況により機会費用は異なる。本研究では平均時間賃金を用いたが、非就労の場合は過大評価の可能性がある。
8. **時間賃金の固定**：分析期間中、時間賃金は一定と仮定したが、実際には賃金上昇がある。

9. 介助内容の限定：本評価で計上した介助削減は「姿勢変換介助」のみである。移乗、排泄、食事、入浴などの介助は依然として必要であり、パイロット研究でこれらに変化は観察されなかった。

10. 介助負担軽減の間接効果：介助負担軽減による介助者の健康維持効果や精神的負担の軽減などは評価していない。

(3) 研究デザイン上の限界

11. 長期的効果の実証不足：6ヶ月間の短期観察のため、側弯進行抑制等の長期的効果は評価できていない。

12. 選択バイアス：研究参加者は Hineru に積極的な患者であり、SMA 1b 型長期生存者全体とは異なる可能性がある。

13. 一般化可能性の限界：SMA 1b 型長期生存者という極めて限定された集団における分析であり、他の神経筋疾患への外挿には慎重を要する。

これらの限界を認識した上で、本研究は Hineru の費用対効果に関する初めての定量的評価として、政策決定の参考情報を提供するものである。

第3章 結果

本章では、第2章で説明した長期推計モデルに基づく費用対効果分析の結果を示す。

1. ベースケース分析の結果

SMA 1b 型長期生存者（13 歳開始、生涯分析、割引率 2%）における、従来の姿勢変換方法と Hineru の費用対効果分析の結果を表 9 に示す。

表 9 長期推計モデルによる費用対効果分析の基本結果

戦略	総費用(円)	総 QALY	増分費用(円)	増分 QALY	ICER
従来の姿勢変換方法	0	4.73	-	-	-
Hineru	3,184,386	7.05	+3,184,386	2.32	1,371,191

Hineru は従来の姿勢変換方法と比較して、約 318 万円の増分費用で 2.32 QALY の効果改善を達成し、ICER（増分費用効果比）は約 137 万円/QALY となった。仮に日本の医療経済評価における一般的な支払意思額閾値（500 万円/QALY）と比較すると、Hineru は費用対効果に優れた介入と評価される。

ただし、本結果は単一症例の短期データ（6 ヶ月）を長期（52 年間）に外挿したものであり、効果の持続性、未成年期への外挿、就労前提などの仮定に依存している。これらの不確実性が結果に与える影響については、次項の感度分析で検討する。

2. 感度分析の結果

ベースケース分析で用いた主要パラメータには大きな不確実性がある。特に、n=1 の実測データ（患者 B）に基づくパラメータ推定は、真の値からの乖離の可能性を否定できない。そこで、これらの不確実性が分析結果に与える影響を評価するため、一元感度分析および確率的感度分析を実施した。

2.1 一元感度分析

一元感度分析では、各パラメータを個別に変動させ、他のパラメータをベースケース値に固定した状態で、ICER への影響を評価した。Tornado Diagram（図 1）は、各パラメータが ICER に与える影響の大きさを示している。

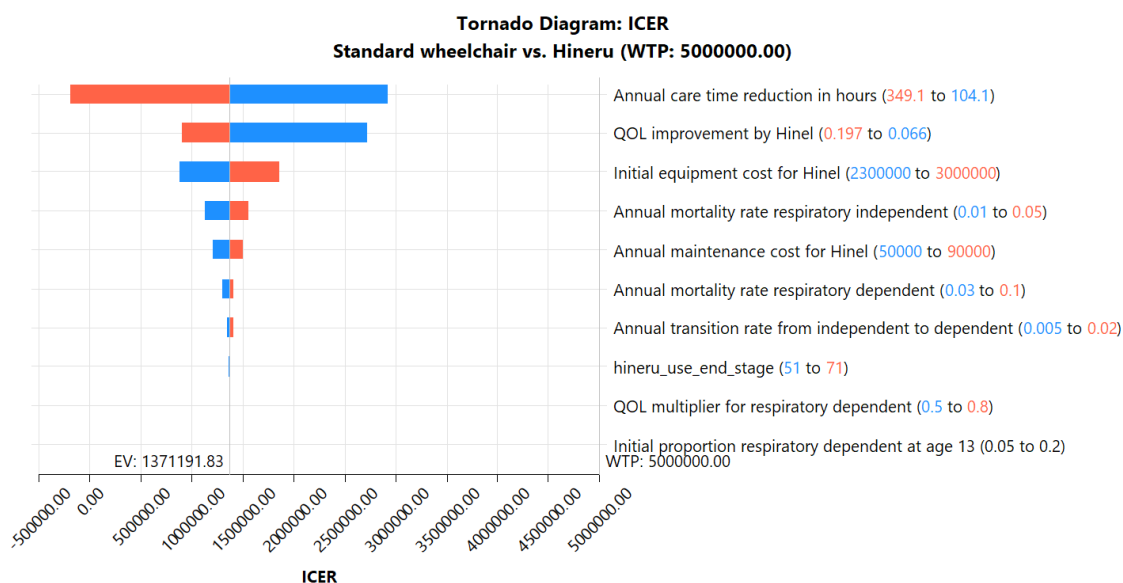


図 1 一元感度分析の結果

ICERに最も大きな影響を与えるパラメータは、介助時間削減（104.1時間～349.1時間/年）であった。

- 上限値（349.1時間）：ICER 約-18 万円/QALY（費用削減）
- 下限値（104.1時間）：ICER 約 293 万円/QALY

いずれの値においても、日本の医療経済評価における一般的な支払意思額閾値（500 万円/QALY）を下回った。

次いで影響が大きいパラメータは QOL 改善効果（0.066～0.197）であった。

- 上限値（0.197）：ICER 約 91 万円/QALY
- 下限値（0.066）：ICER 約 272 万円/QALY

その他のパラメータ（初期費用、死亡率、遷移確率、使用期間等）の影響は相対的に小さく、いずれも支払意思額閾値を下回った。

この結果は、介助時間削減効果と QOL 改善効果が費用対効果の主要な決定因子であることを示している。いずれのパラメータを変動させても支払意思額閾値を超えるシナリオが生じなかった点は、結果の頑健性を強く支持している。

2.2 確率的感度分析

パラメータの同時変動が結果に与える影響を評価するため、第 2 章 12.2 に記載した方法により確率的感度分析を実施した。

費用効果平面（図 2）は、1,000 回のシミュレーションにおける増分費用と増分 QALY の分布を示している。

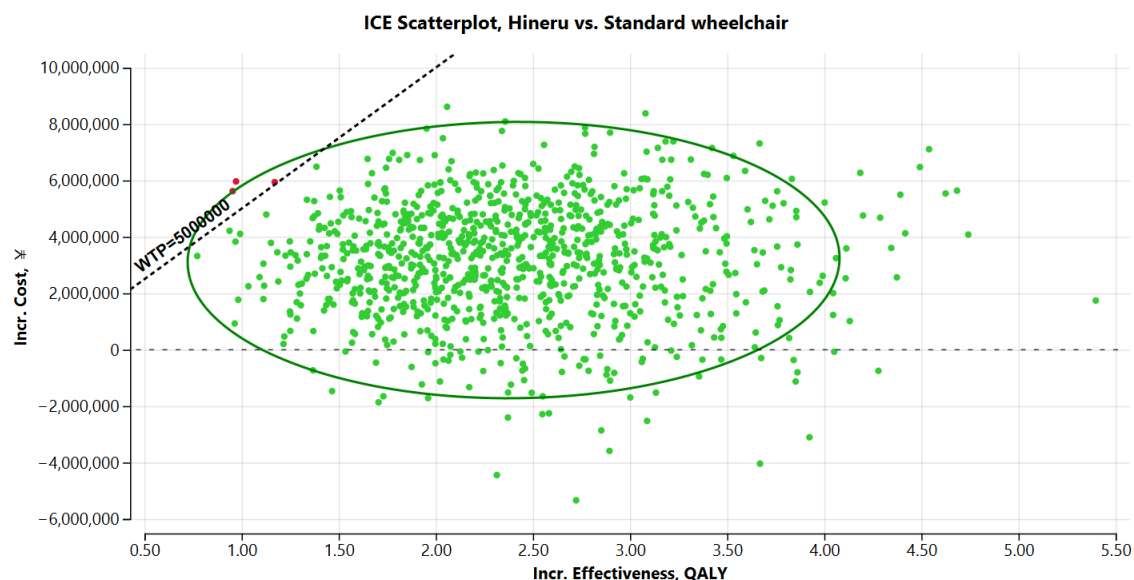


図 2 費用効果平面

シミュレーション結果の大部分は第 1 象限（費用増加・効果増加）に分布し、95%信頼楕円の中心はベースケース分析の結果（増分費用約 318 万円、増分 QALY 約 2.32）とほぼ一致した。また、介助時間削減効果が大きいシナリオでは生産性便益が機器費用を上回り、第 4 象限（費用削減・効果増加、すなわち Hineru が支配的）に分布するシミュレーション結果も一定数存在した。支払意思額閾値 500 万円/QALY を表す直線（図中の破線）より下側に、シミュレーション結果のほぼすべてが位置している。

支払意思額閾値ごとに、Hineru が費用対効果に優れる確率を図 3 に示す。

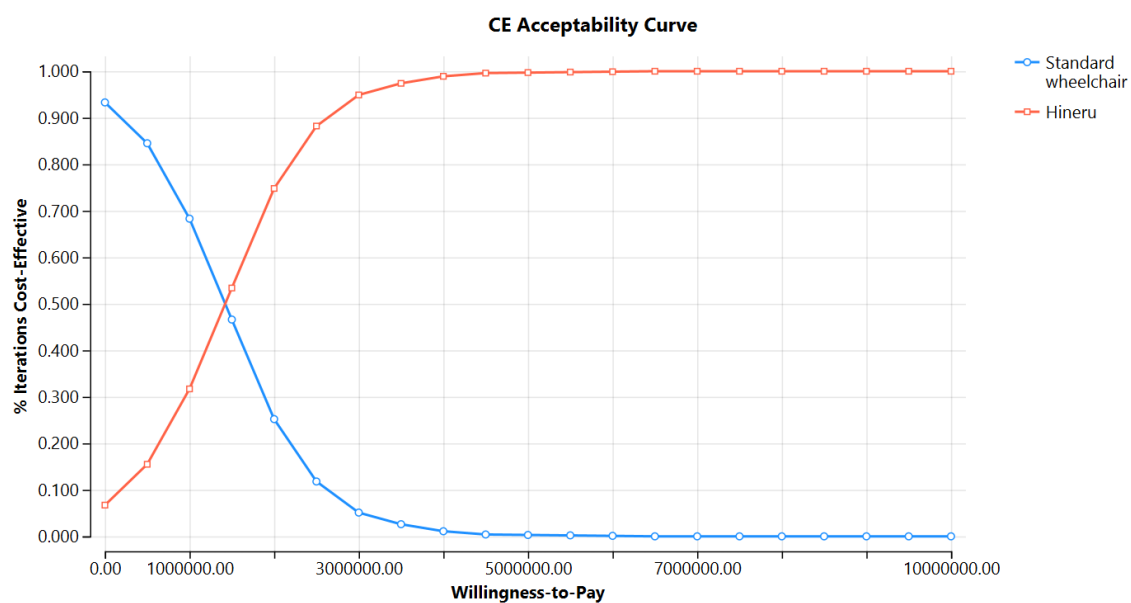


図 3 費用効果受容曲線

Hineru が費用対効果に優れる確率が 50%を下回るのは、支払意思額閾値が約 150 万円を下回る場合である。日本の医療経済評価において一般的に用いられる支払意思額閾値 (500 万円/QALY)においては、Hineru が費用対効果に優れる確率はほぼ 100%であった。この結果は、パラメータの不確実性を考慮しても、Hineru が日本の医療政策の文脈において費用対効果に優れる可能性が高いことを示している。

第4章 考察

本研究は、SMA 1b型長期生存者を対象とした Hineru の費用対効果を探索的に評価した フィージビリティスタディである。単一症例 (n=1) の短期データ (6 ヶ月) に基づく評価であり、多くの限界を有する (第2章 12.3 参照)。これらの限界を前提としつつ、以下では単一症例データから得られた知見、長期推計の解釈、政策的含意について考察する。

1. 単一症例データから得られた知見

本研究の限界を前提としつつ、以下の重要な知見が得られた：

(1) 痛み/不快感の大幅改善と予防的効果

患者 B の QOL 改善 (+0.131) において、特に注目すべきは「痛み/不快感」次元における大幅な改善である (EQ-5D-5L のレベル 4「かなりの痛みや不快感がある」→レベル 1「痛みや不快感はない」)。この改善は、従来の「痛みを感じてから介助者に依頼する」という事後対応から、「痛みを感じる前に自分で姿勢調整する」という予防的アプローチへの転換を示している。この改善は3段階という明確な変化に基づいており、測定の妥当性は高いと考えられる。また、痛み/不快感の予防という機械的・機能的な効果は、長期的な持続性を支持する可能性がある。

さらに、この痛み/不快感の軽減は、後述する生産性向上とも関連している。痛みによる作業中断を予防できることが、連続した集中作業を可能にする基盤となっている。

(2) 介助時間削減と生産性向上

就労時間帯 3 時間における介助時間は平均 55.5 分 (年間就労日数 245 日換算で年間 226.6 時間相当) 削減された。この削減の主因は介助回数の減少にとどまらず、従来必要とされていたマッサージ的ケア (揉む・擦る・振る等) がほぼ不要になったことにある。感度分析においても、介助時間削減が費用対効果に最も大きな影響を与えるパラメータであることが示されている。

患者 B の報告から、この介助時間削減の本質的な意義は「作業中断の削減による生産性向上」にある。生産性向上のメカニズム (自律的姿勢変換の獲得→介助のための作業中断の消滅→集中作業時間の確保) は患者 B の報告により裏付けられており、支援機器の価値評価において健康アウトカムだけでなく社会参加と生産性の視点が重要であることを示している。

(3) 個別適合の重要性

患者 A が継続使用に至らなかった経験は、高度な支援機器の導入において、個別ニーズ評価 (既存機器との適合性、生活環境との整合性) が不可欠であることを示している。

2. 長期推計の解釈

長期推計モデルによる結果（約 318 万円の増分費用で 2.32 QALY の改善、ICER 約 137 万円/QALY）は、単一症例の短期データを 87 年間に外挿したものであり、複数の仮定に依存している。したがって、この結果は「確定的な予測」ではなく、「効果が持続する場合に期待される経済的価値の推計」として解釈すべきである。

ただし、以下の点は結果の解釈において重要である：

(1) 保守的な仮定の採用

ベースケース分析では、6 ヶ月で測定された効果のみを含め、長期的な臨床効果、公的ヘルパー費用削減、65 歳以降の使用、教育効果は含めなかった。これらの保守的な仮定にもかかわらず、ICER 約 137 万円/QALY という日本の医療経済評価における一般的な支払意思額閾値（500 万円/QALY）を下回る良好な費用対効果が達成されたことは、実際の経済的価値がさらに大きい可能性を示唆している。なお、介助時間削減の上限値（349.1 時間/年）では生産性便益が機器費用を上回り、Hineru が ICER の観点で支配的となるシナリオも生じた。

(2) 感度分析による頑健性の確認

一元感度分析では、介助時間削減が最も影響の大きいパラメータであることが示された。次いで QOL 改善効果の影響が大きかったが、いずれのパラメータをその変動範囲の下限値に設定した場合でも、ICER は支払意思額閾値（500 万円/QALY）を下回った。

確率的感度分析では、パラメータの同時変動を考慮しても、支払意思額閾値 500 万円/QALY において Hineru が費用対効果に優れる確率はほぼ 100%であった。この結果は、単一症例データに基づく推計という限界はあるものの、結果の頑健性を支持している。

(3) メカニズムの妥当性

生産性向上のメカニズム（自律的姿勢変換の獲得→介助のための作業中断の消滅→集中作業時間の確保）は、患者 B の報告により裏付けられている。また、Hineru の効果が機械的・機能的なものである点は、効果の長期持続性を支持する。

これらを総合すると、長期推計の結果は「確定的」ではないが、「合理的な可能性の範囲内」と評価できる。

3. 政策的含意と今後の研究の方向性

(1) 補装具費支給制度への予備的示唆

本研究の探索的知見は、Hineru を補装具費支給制度の対象とする政策判断に資するエ

ビデンスとなり得る。経済的には、ICER 約 137 万円/QALY という日本の医療経済評価における一般的な支払意思額閾値（500 万円/QALY）を大きく下回る良好な費用対効果が示された。また、本研究で明らかになった主要な効果-作業中断の削減による生産性向上-は、補装具費支給の目的である「身体障害者の職業その他日常生活の能率の向上を図ること」および「身体障害児については、将来、社会人として独立自活するための素地を育成・助長すること」に資するものである(1)。

(2) 今後の研究の必要性

本研究の限界を克服し、エビデンスを強化するため、以下の研究が必要である：

- より多くの患者を対象とした検証研究（人工呼吸器依存患者を含む）
- 長期観察による効果の持続性の評価
- 年齢層、重症度、生活環境別の効果検証
- 他の神経筋疾患への応用可能性の評価

(3) 希少疾患における支援機器評価への示唆

本研究は、希少疾患における支援機器評価の方法論的課題と可能性を示した。対象集団の希少性により大規模研究が困難な場合でも、小規模パイロット研究と保守的な経済評価を組み合わせることで、予備的なエビデンスを提供できる可能性がある。このアプローチは、今後の同様の評価研究の基盤となりうる。

第5章 結論

本研究は、SMA 1b型長期生存者に対する Hineru の費用対効果を評価した初めてのフェーズビリティスタディである。単一症例（n=1）の6ヶ月データに基づく探索的評価という限界はあるものの、以下の知見が得られた。

ベースケース分析では、Hineru は従来の姿勢変換方法と比較して ICER 約 137 万円/QALY という良好な費用対効果を示した。感度分析でも、支払意思額閾値 500 万円/QALY においてほぼ 100%の確率で費用対効果に優れることが確認された。

患者の報告から、高度な姿勢変換機能の主要な価値は、痛み/不快感の予防的軽減（EQ-5D-5L でレベル 4→レベル 1 の大幅改善）、作業中断の削減による生産性向上、および自律性の獲得にあることが示唆された。特に、痛みを感じる前に自分で姿勢調整できるという予防的効果は、長時間の集中作業を可能にする基盤となっている。これらは補装具費支給制度の目的に合致する便益である。

本研究は希少疾患における支援機器評価の方法論的可能性を示したが、エビデンスの強化には、より大規模な検証研究、長期観察、多様な患者層での効果検証が必要である。

謝辞

本研究は、トヨタ・モビリティ基金の助成を受けて実施された。同基金は評価対象機器の選定に関与したが、研究の分析設計、データ分析の実施、結果の解釈には関与していない。

利益相反

著者は本研究に関する利益相反を有さない。

【引用文献】

1. 厚生労働省. 「補装具費支給事務取扱指針について」の一部改正について [インターネット]. 2024 年 [引用 2026 年 2 月 15 日]. 入手先:
<https://www.mhlw.go.jp/content/001230552.pdf>
2. KOBORIN. 姿勢変換機能つき電動車いす Hineru [インターネット]. 入手先:
<https://koborin.com/hineru/>
3. 脊髄性筋萎縮症 (SMA) 診療の手引き編集委員会. 脊髄性筋萎縮症 (SMA) 診療の手引き. 大阪: メディカルレビュー社; 2022 年.
4. Shiroiwa T, Noto S, Fukuda T. Japanese Population Norms of EQ-5D-5L and Health Utilities Index Mark 3: Disutility Catalog by Disease and Symptom in Community Settings. *Value in Health*. 2021 年 8 月;24(8):1193-202.
doi:10.1016/j.jval.2021.03.010
5. Thokala P, Stevenson M, Kumar VM, Ren S, Ellis AG, Chapman RH. Cost effectiveness of nusinersen for patients with infantile-onset spinal muscular atrophy in US. *Cost Eff Resour Alloc*. 2020 年 12 月;18(1):41. doi:10.1186/s12962-020-00234-8
6. Wang T, Scuffham P, Byrnes J, Downes M. Cost-effectiveness analysis of gene-based therapies for patients with spinal muscular atrophy type I in Australia. *J Neurol*. 2022 年 12 月;269(12):6544-54. doi:10.1007/s00415-022-11319-0
7. Lloyd AJ, Thompson R, Gallop K, Teynor M. Estimation Of The Quality Of Life Benefits Associated With Treatment For Spinal Muscular Atrophy. *CEOR*. 2019 年 10 月;Volume 11:615-22. doi:10.2147/CEOR.S214084
8. Hu J, Zhu L, Bao H, Liu Y, Xing H, Kang Q, ほか. Utility estimations of

different health states of patients with type I, II, and III spinal muscular atrophy in China: A mixed approach study with patient and proxy-reported data. Front Public Health. 2022 年 12 月 20 日;10:1054931. doi:10.3389/fpubh.2022.1054931

9. 厚生労働省. 令和 5 年賃金構造基本統計調査 結果の概況 [インターネット]. 入手先:

<https://www.mhlw.go.jp/toukei/itiran/roudou/chingin/kouzou/z2023/index.html>

10. Pera MC, Coratti G, Pane M, Masson R, Sansone VA, D' Amico A, ほか. Type I spinal muscular atrophy and disease modifying treatments: a nationwide study in children born since 2016. eClinicalMedicine. 2024 年 12 月;78:102967. doi:10.1016/j.eclinm.2024.102967