

世界血友病連盟（WFH）特別講演

マーク・スキナー会長 . . . p 42
アリソン・ストリート副会長 . . . p 56

全国
ヘモフィリア
フォーラム

世界血友病連盟（WFH）特別講演 1

WFH について、 及び全国的な血友病組織を作ることの意義について ー世界的なデータからー

マーク・スキナー MARK SKINNER
(世界血友病連盟 会長)



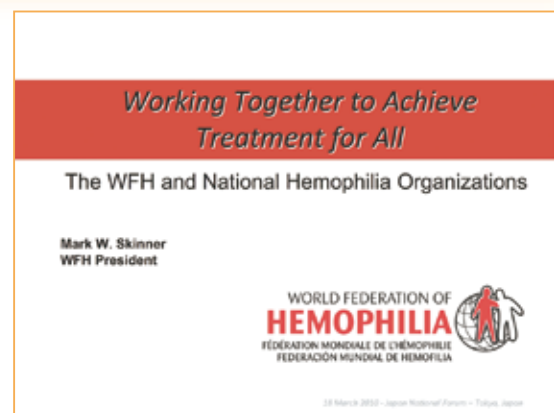
1960 年、アメリカ・カンザス州生まれ。カンザス州立大学で行政学と経営管理学の学位を取得し、アメリカ法学賞を授与されたウォッシュバーン大学法学部では、法律学の学位を取得、さらにその後英国のエクセター大学で国際法を学んだ。

1984 年から、生まれ故郷のカンザス州で出血性障害者団体を支持する活動に従事し始めた。公共政策と権利擁護活動分野での専門的訓練や経験が認められ、1997 年に全米血友病財団の全国理事会理事に任命された。その後 2001 年から 2002 年には、会長の要職を務めた。この間に特筆すべき点としては、草の根運動を指導し、汚染された凝固因子で HIV に感染した人々を対象にしたリッキー・レイ血友病救済基金の法的制定とそれに続く国からの資金提供を実現させたことである。

彼はこれまで、血液の安全性、供給及び入手可能性という重要な課題について頻繁に講演をしてきた。米国保健福祉省長官に帰属する「血液の安全性と入手可能性」に関する諮問委員会が開催された時にも委員を勤めた経験がある。

現在はワシントン DC で弁護士をしているが、同時に 2002 年に世界血友病連盟（WFH）の執行委員会に加わり、2004 年から同 WFH の会長に就任、ボランティアで活動が続けてきた。

2007 年以来、再び来日し、世界ヘモフィリア・デーを皆さんと一緒に祝うことが出来て、とても嬉しく思っています。本題に入る前に、私のことを少しお話しします。私は血友病 A 重症型の患者で、1960 年に生まれました。当時の私は、全血と FFP（新鮮凍結血漿）による治療を受けており、その後、血友病の治療の歴史を生きてきました。1980 年代には、私も HIV と C 型肝炎に感染しましたし、また、両膝関節の置換手術、両足関節と肘の整形外科手術も受けました。そして私は、チーム医療、包括的な治療の重要性を身にしみて感じています。



日本や米国のような先進国、あるいは途上国を見ていると、HIV の悲劇、様々なケアのレベル、色々な状況が存在しています。今日は、我々 WFH のビジョン、また、国内における患者組織の果たすべき役割についてお話ししたいと考えています。

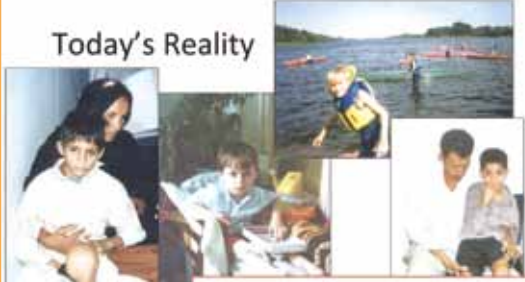
WFH は、1963 年に設立され、もうすぐ 50 周年を迎えます。WFH は、出血性疾患を持つ世界中の患者さんの国際組織として、1969 年に WHO（世界保健機構）から認められました。多くの国がメンバーになっていること、医師と患者が非常に緊密に協力し合っていることがその特色です。世界的な患者組織が医師と協力し合うことには、非常にメリットがあります。医師と患者が一緒になってどのように世界のケアを改善していくか、このあと、ストリート先生からお話を聞けると思います。

Who is The WFH?

- International non-profit organization founded 1963
- World Health Organization (WHO) recognition in 1969
- 113 National Member Hemophilia Organizations
- Extensive network of lay & medical volunteers
- Headquarters in Montreal, Canada (25 staff)
- Elected Executive Committee (15 members)



Today's Reality



- 70% not diagnosed
- 75% not treated
- The Reality - Many will die young or grow-up severely disabled

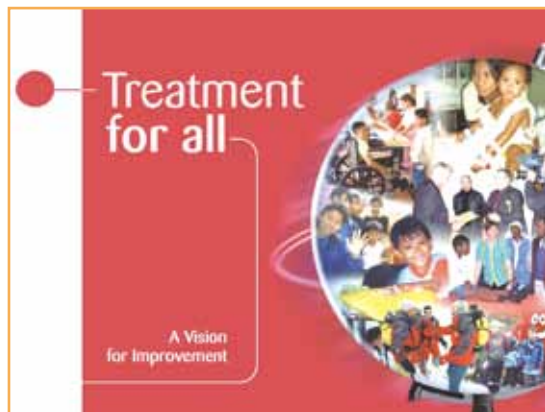
Our Mission

The World Federation of Hemophilia improves and sustains care for people with inherited bleeding disorders around the world.



血友病ケアの現状を申し上げますと、世界の患者の 70%は、確定診断さえ受けていません。たとえ診断されても、そのうちの 75%は治療を受けられていません。ですから、それらの患者は早死にしたり、重篤な関節症になったりしてしまいます。WFH の理念・使命とは、このような現実を変えることです。我々は非常に誇りに思っていますが、1963 年にコペ

ンハーゲンで行なわれた WFH 設立会議の時、14 の参加国の中に既に日本も加わっていたのです。現在は、113 の国が加盟しています。



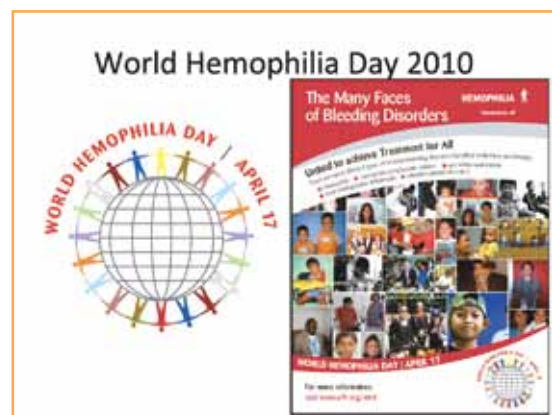
Our Vision

Treatment for All

- It means safe, effective treatment products are available for all people with inherited bleeding disorders
- It means proper diagnosis, management, and care by a multidisciplinary team of trained specialists
- It means expanding services beyond hemophilia, to those with von Willebrand disease, rare factor deficiencies and inherited platelet disorders

私たちは、“Treatment for All（総ての人に治療を）”という理念——安全かつ有効であり、総合的な治療・チーム医療が行き渡ること——のために努力しています。様々な専門家が患者を取り囲み、必要な治療を提供することによって、健康と QOL を保障するのです。この WFH の理念には、血友病に限らず、それ以外の凝固異常症——フォン・ヴィルブランド病や稀な凝固因子欠損症も含まれます。今年の世界ヘ

モフィリア・デーのテーマは“The Many Faces of Bleeding Disorders（血液凝固異常症の様々な顔）”で、世界各地でこれに基づくイベントが行なわれています。血友病というと男性だけの病気のように受け取られがちですが、実際には血液凝固異常症の一部であり、WFH としてはその認識を変えたいと考えています。



What We Do

- Healthcare Development Programs
- Educational Materials/ Website
- Public Policy
- Data and Demographics
- International Congress
- Fundraising

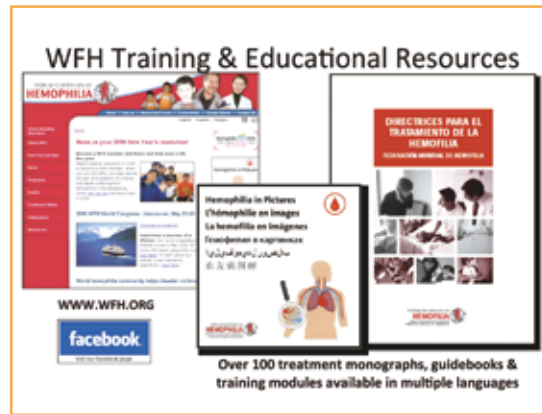
Achieving Treatment for All

In order to reach our vision, the WFH is:

- Implementing National Care Programs in target countries
 - GAP Project
 - Country Programs
 - Special Projects
- Initiating new training & educational tools to improve care in all countries

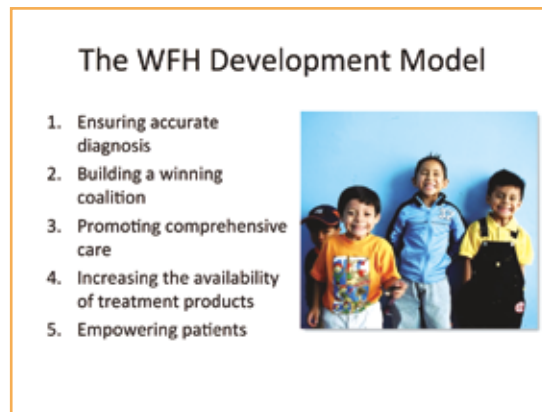


私たちの事業の内容を説明します。“Treatment for All”という理念のために幾つものプログラムを進めており、国際会議や国内会議において、ワークショップや特別のプログラ



ムを設けています。発展した患者会、動きはじめばかりの患者会、それぞれの国に様々な患者会があります。私たちは世界的な連帯を目指していますが、先進国と途上国とのギャップをなくすことが大切です。新しく生まれてきた子供たちのために、良い医療、格差のない医療を提供することが私たちの目標です。

患者会の活動を支援するために、私たちは色々な資料を用意しています。これらの資料は総て WFH のウェブ・サイトで閲覧可能ですが、残念ながら日本語版はほとんどありません。英語版でよろしければ、ぜひダウンロードしていただきたいと思います。血友病を説明するための絵本などもありますし、血友病治療をうまく進めるためのレベルに合わせた資料を作っています。日本でも、日本の状況に合わせた資料を作っていけたらいいと思います。

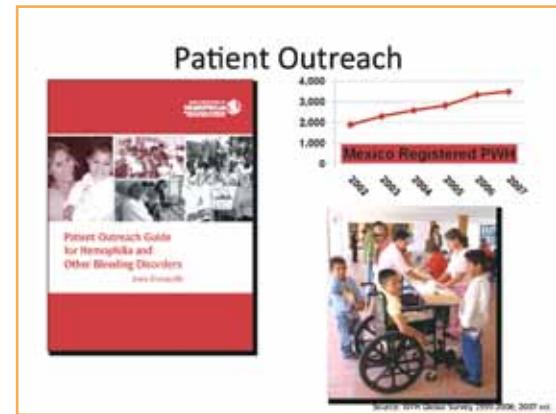


WFH は、発展のために重要な要素を 5 つ考えています。

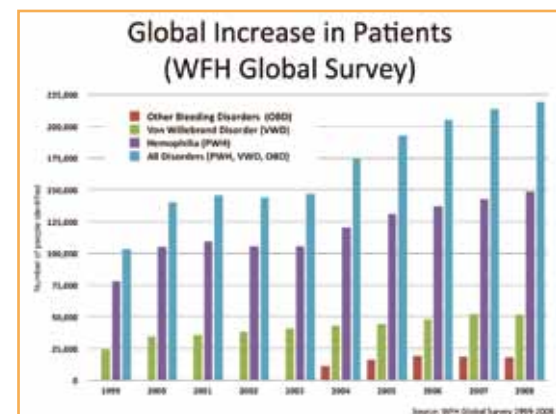
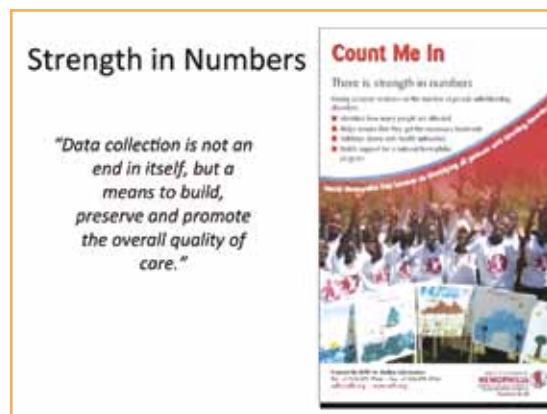
まず「患者として数えられることの重要性」です。患者が治療を総て受けるためには、教育・情報啓発が必要になります。正確な診断や治療を受けるためには、もちろんプライバシーを護ってですが、全国的な患者の登録制度が有効です。集められたデータは、研究や治療のために活かされます。メキシコでは、登録制度により、2002 年から 2007 年の間に患者数が約 2 倍に増えました。それまでは、医療機関も患者を把握していなかったし、患者も治療を受けていなかったのです。

1. The Importance of Being Counted

Outreach
Ensuring Accurate Laboratory Diagnosis
Building a National Patient Registry



ラボ（検査施設）での正確な診断には、検査技師たちが正しい知識を持つための教育が必要です。確実な検査により、正確な診断が期待されるようになります。私たちは IEQAS（国際外部品質保証スキーム）という枠組みを持っていて、血友病センターのラボをチェックし、保証しています。このガイドラインに従ってラボの作業が進められれば、フォン・ヴィルブランド病などについても的確な診断が行なわれます。



厚生労働省などに対して、患者が治療水準の向上を求める場合にも、正確な患者数が不明では、必要な医師の数も予算も判りません。患者の権利を擁護するためには、多くの患者のデータを集めて活用することが大きな力となります。WFH は、世界中には約 40 万人の凝固異常症患者が存在すると推定していて、その全員に手を差しのべることが私たちの目標です。

次に「相互利益連携を作り上げる」ことです。行政、医師、患者がバラバラに動くのではなく、検討課題を共有し、お互いに利益のあるパートナーシップを持つことを各国に働きかけます。それによって、患者に最善の医療システムが作られると考えているからです。

2. Building a Winning Coalition

Achieving Government Support for a National Program

私たちは、各国の行政がWFHを理解し、その国の患者を援助してくれるように求めます。実際にWFHは、各国の政府、患者会に働きかけ、たとえばHTC（血友病センター）の設置、製剤供給の増加、データの集積、教育、情報啓発というような援助に関する合意書を作ってきました。それらの国においては、患者会や専門家の求める支援が明確になり、うまく進む例が見られます。

Achieving Government Support

Governments
Medical Professionals
Patients & Families



Government Agreements

- Ministry of Health
 - Establish a national program
 - Establish an HTC
 - Increase product purchase
 - Establish a national registry
- WFH
 - Train medical team
 - Translate educational material
 - Enroll lab in IEQAS
 - Strengthen patient organization



3. Promoting Comprehensive Care

Improving the Care Delivery System

3つ目の「包括医療の推進」は、ストリート医師のお話に出てくるでしょう。最初に、総合的な医療がQOLを向上させると言いました。国によって取り組み方は異なりますが、包括医療は、患者に良い結果をもたらす根本です。患者は、血友病専門医（血液内科医）だけではなく、歯科医、理学療法士、ソーシャルワーカーなど多くの専門家にアクセスすべきなのです。WFHは、包括医療

Improving Care Delivery System



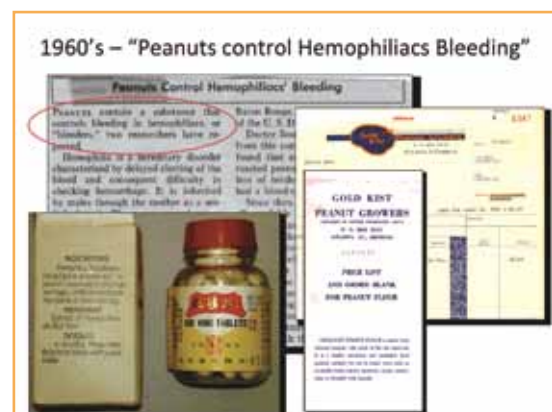
WFH Healthcare Development Programs

- NMO skills training
- Organization & Center twinning
- Humanitarian aid
- Medical training fellowships
- Multi-disciplinary workshops
- Laboratory IEQAS



を発展させるために「ツイニング（ふたご＝橋渡し）・プログラム」を考えました。これは、包括医療に関して十分な経験を持つ先進国と、これから進めようとしている途上国とを一对一で組み合わせて、専門家の持つ情報を共有しようとするものです。

私たちは、様々な医療の専門家に血友病に関する最新のトレーニングを行ない、包括医療を習得してもらうためのインターナショナル・ヘモフィリア・トレーニング・センターを世界の何カ所かに持っています。その一つは奈良医大にあり、これは、WFH に対する日本の大きな貢献です。世界の多くの患者が日本に助けられている事実を皆さんにも知っていただきたいと思います。

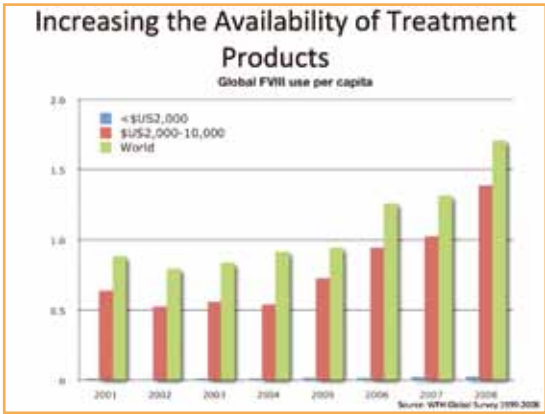
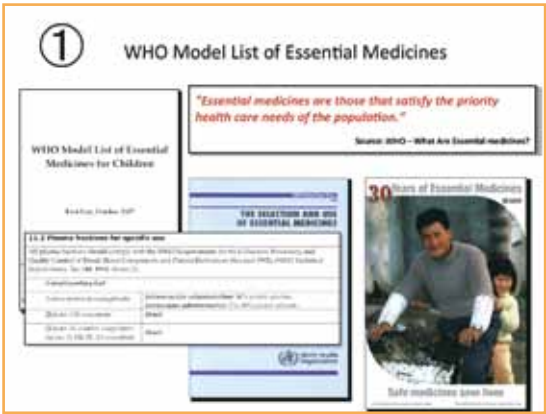


4つ目は「治療用薬剤の供給増大を目指す」ことです。血液製剤の質、安全性も重要ですが、薬剤はそれだけではありません。2007 年に来日した際、私たちは「はばたき福祉事業団」が様々な歴史的資料を集めていることを知りました。たとえば私が生まれた1960 年代には、ピーナッツの成分が血友病に効くとして売られていたのです。それを思えば、現在の治療薬は何と進歩したことでしょう。

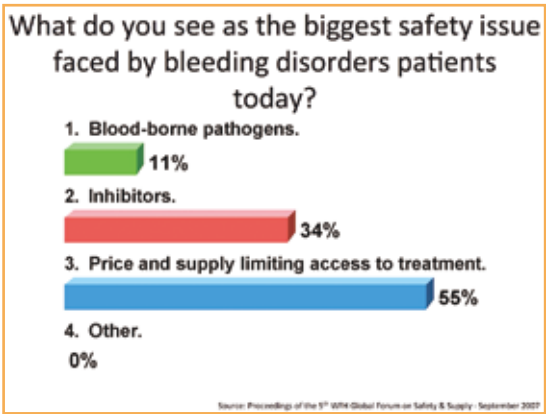
製剤には幾つもの種類があります。しばしば質問されますけれども、WFH は、血漿由来製剤、遺伝子組み換え製剤のどちらを使うほうが良いとは言いません。それぞれの国が決める問題です。私たちが絶対に譲らないことは、価格ではなく品質によって決める、安全性に基づいて製剤を選ぶという点だけです。製剤の供給が国の経済力によるとしても、価格のために安全性を犠牲にしてはなりません。



次ページ①の表は、WFO が出している必要な薬剤のリストで、血友病のための製剤もそこに載っています。行政に対して必要な製剤を要求する時の裏づけとなる資料だと思います。



製剤供給の増大を見てみましょう。製剤がどのくらい使われているかは、血友病治療がどのくらい確実に行なわれているかにつながります。各国の人口一人あたりの使用単位数を出していますが、WFH の目標としては、最低でも、総ての国で 1 単位 × 総人口分以上の製剤を使ってほしいと考えています。これが達成されれば、患者が早期に死亡するようなことは避けられるでしょう。近年、全般に状況は改善されていますけれども、GDP（国内総生産）が 2000 ドル以下の国の場合、血液製剤の使用量は未だに極めて少ないのです。



私たちは、2年に1回、行政、医師、業界、患者の方々に参加してもらって世界大会を開いています。そこで、近年の課題を端的に尋ねると、製剤の価格と供給の問題が主要な関心となっています。HIVに限らず、C型肝炎、vCJD（変異型クロイツフェルト・ヤコブ病）などを含む“Blood-borne pathogens（血液を介する病原体）”の問題は減少し、インヒビターの問題が大きくなりつつあります。患者組織は、HIVの歴史——製剤の安全性を忘れることなく、その他の課題にも対処しなければなりません。私たちは行政や医師から助けをもらいながら、このような問題に関する教育、情報啓発を行なっています。

最後の5つめに、とても大切な点として、血友病の「仲間を力づける」——血友病患者の強い全国組織が作られ、その組織が自分たちの力によって必要な行動をやり遂げるといふ状況を私たちは望んでいます。国ごとの全国組織にWFHの加盟会員になってもらい、その国の患者の問題を自分たちで解決できる良い組織になるよう様々なお手伝いをします。

5. Empowering Patients

Building a Strong National Patient Organization

Building Strong National Patient Organizations

- Global training
- Regional advocacy workshops
- Twinning Program
- Educational resources
- Patient involvement in the healthcare system
- Outreach to new families

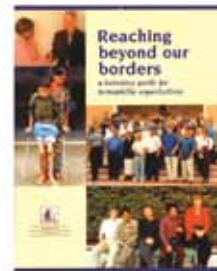


つい最近、アジア太平洋地域のミーティングがあり、その際、トレーニングも行ないました。同様に、専門家の方たちに対しても、WFH は先ほど説明したツイン・プログラムなどのプログラムを持っていますし、家族の方々にも教育やサポートを行っています。私たちは、患者が本当に必要としている要望を、確実に政府に聞いてもらえるような形で出していかなければいけないと考えます。アジアだけでも、②の

表のようなツイン・プログラムが行なわれています。“国境を超え、お互いに手をつなぎ合おう”というのが私たちの考えで、どこに住んでいる人でも、他の国の人と同じ問題、似たような問題に直面しています。経済的な援助ではなくとも、知識を共有することに意味があり、そこに WFH の出番が生まれます。

Hemophilia Organization Twinning

- Twinnings in Asia
- Singapore – Adelaide (Australia)
 - Bangladesh – Delaware Valley (US)
 - India – Denmark
 - Philippines – Victoria (Australia)
 - Nepal – Sweden
 - Mongolia – Saskatchewan (Canada)
 - Indonesia – Netherlands
 - Thailand – Australia



②

Why Should Do We Seek an Empowered NMO?

- Years ago, it was not unusual to find few hemophilia services
 - Few patients were diagnosed properly, factor concentrates were scarce and self-infusion was nonexistent
 - Families were uneducated about hemophilia and its consequences
 - Children were kept away from schools
 - Many faced crippling and traumatic experiences
 - Many jobless, depressed and became severe burden to the family and society

Purpose of a NMO

- An empowered national society can lead to significant advances for the patient community
- Mission - To promote, maintain & improve treatment and care within the country
- Primary tasks of a National Organization
 - Advocacy
 - Education
 - Training

患者組織には、長所も短所も存在するでしょう。日本の血友病の歴史を聞くことが出来ましたが、米国も同様で、私は地方で育ち、地区会もありませんでした。1960年代、70年代の私たちは、診断も、治療も、情報を得ることも困難で、子供たちは学校にも行かず自宅で過ごし、生活は現在とはまるで異なっていました。患者会が専門家とともに政府に働きかけ、状況は大きく改善したのです。

患者の全国組織の目的とは、国全体の患者をリードし、助け、情報を伝え、交渉能力を持つことです。現在の状況を少なくとも維持し、新たな改善を図ること、教育、情報啓発、トレーニング、自らの権利擁護が重要です。

患者会とは、患者だけの組織ではありません。WFHを見て下さい。私たちの委員会は、半数が患者、半数が医師です。開発途上国においては、医師が患者会を始めることもあります。もちろん、その会が強くなれば、リーダーシップは患者側に移ります。患者だけ、医師だけでパートナーシップを伴わないと、活動はうまく進まないと思います。患者、家族、医師、様々な専門家、色々な立場の人——血友病とは何の関係もないような人も加わっているかもしれませんが、そういう人たちが一緒に患者を助けて会の活動を進める必要があります。

Who are the Individuals Behind a NMO?

- Patients
- Parents and family members
- Doctors & Nurses
- Comprehensive Care Team (Physiotherapist, Medical Lab Scientists, Social Workers)
- Volunteers

Main Challenges in Developed Country NMOs

- Financial constraints
- Lack of qualified volunteers
- Unity with local chapters or Weak local chapters
- Lack of information in local language
- Lack of consistent contact with health officials
- Less interest in succession planning
- Lack of office equipment and facilities

Main Challenges in Developing Country NMOs

- Lack of adequate factor replacement therapy
- Inadequate treatment infrastructure
- Major economic constraints
- Communication problems
- Lack of community among people with bleeding disorders

皆さんよく御存じのように、米国のような先進国と開発途上国との間には、経済的な限界、ボランティアの不足、全国組織と地区会の連携の困難など、大きな差があるでしょう。でも、米国で行なわれている事が途上国では不可能というわけではありません。それぞれの国において、全国組織が強かったり、地区会が強かったりすることがあるでしょうけれども、それらは連携しなければなりません。政府との関係性が形作られていれば、その維持が必要です。

開発途上国には様々な課題があり、どこから始めればいいのか悩ましいものです。HTCや包括医療などのシステムがない、必要な製剤さえ得られない、インターネットへのアクセスなど患者同士のネットワーク構築も難しいというように、たくさん問題があります。もちろん、最低限の治療を実現するための経済的援助は必要ですが、あなた方がそれらの国に対して援助する方法は、お金をあげることだけではないのです。

Responsibilities of a NMO

- Must recognize and adapt to forces that threaten care at each stage of development
 - Political process and care delivery system are dynamic entities that change
 - Must not think or plan in a static environment
- Must understand patient needs
 - Restructure the organization to meet new needs
- Must work closely with health care providers
- Must speak as one voice
- Must stay focused
- Must work closely with government officials

NMO Roles, Rights & Obligations

- Front line
 - Guardian of the Blood Supply; Treatment Safety
- Right to be Heard
 - Consulted at all levels of decision making
 - Included in and informed of all government deliberations
- Partners in advancing treatment
 - Shared responsibility
- Transparency in funding and decision making
 - Independent judgment
- Develop knowledge and expertise
 - Identify and train key volunteers
 - Beware of exploitation, providing political cover

WFH に加盟している各国の全国組織の責任とは、どのようなものでしょうか。人は、決まった所で決まった事をするだけではありません。物事は動き、環境や時代は変わり、80 年代、90 年代、そして今があります。米国はそうでしたし、日本もそうだったでしょう。時代が変われば課題も変わります。もちろん過去の HIV のような悲劇は絶対に忘れてはいけませんが、新しい患者・家族が生まれ、新しい問題が出現しますから、HIV 感染のような従来の課題だけにこだわってはいけません。

米国でも、HIV 感染に対する補償が行なわれ、次は HCV 感染に対する補償が問題となり、次いで女性の止血異常（凝固異常症）患者へのサポートが必要と考えられ、焦点となる課題は時代により変わるのです。その国の患者にとってその時点で最善のものを探すこと、どうしたら新しい患者にとって必要なものを提供できるのかを常に考えることが全国組織の責任であると私たちは考えます。

患者のニーズを理解するためには、ヘルスケアの専門家——医師だけではなく、血友病を客観的に見られる様々な医療従事者——が大きな助けとなります。また、一定の経済的基盤がなければ活動は出来ませんから、資金集めも必要でしょう。ただ、あくまでも患者という存在を中心に置くことだけは、ブレてはいけないと思います。その意味では、行政や医師との緊密な協働が必要です。患者と医師は、声を一つにまとめて政府に向かうことがとても重要です。私たちは、患者には自らの立場を強くするための運動をする権利があると考えています。もしも政府が私たちの健康を損なう対応をした場合は、権利擁護の一つとして、改善を働きかけなければなりません。

HIV の悲劇に基づき、米国では『HIV と血液供給』という報告がまとめられました。血液供給にとっては安全性が第一ですが、そのためには、全国組織は、政府や他の行政組織、医師との間で責任を分かち合い役割分担をさせることが必要です。日本では、患者も熱心に関わりながら非常に良い形で血液行政が進められていると聞いています。WHO は、特に HIV 問題とは関わりなく、患者が自分たちの意見を行政に

Blood Safety – A Shared Responsibility



"Blood safety is a shared responsibility of many diverse organizations. They include ... the CDC, the FDA, and the NIH and private-sector organizations such as community blood banks and the American Red Cross, blood and plasma collection agencies, blood product manufactures, groups like the NHF, and others."

Source: HIV and the Blood Supply: An Analysis of Crisis Decisionmaking - Executive Summary Institute of Medicine Report 1990

反映させる権利を持つとして、血液の臨床的使用に関して専門家が患者のためにどのようにしたらいいかというガイドラインを設けています。

今回、私たちは厚生労働省と面談の機会を持ち、血友病の治療をいかに改善するかを話し合いましたが、HIV の経験を踏まえ、患者の声が適切に届いている、医療者とも協力して今後の問題を扱うことができると判りました。これは、素晴らしいことです。日本だけではなく、他の国でも同じような例が見られます。

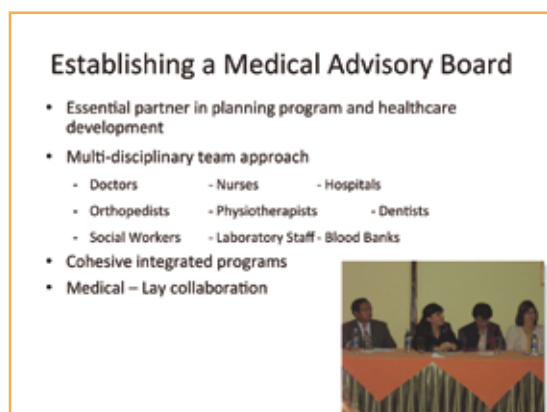


米国の話が多くなりますけれども、これは、米国が一番良いという意味ではなく、経済力が強い国として、日本と類似点があると思うからです。米国の患者会が行っている“Do the 5（5つの事を実行しよう）”というものがあります。これは、ケアの質、患者のQOLを高めることを目的とする広汎な教育プログラムです。色々な教材を使い、地区会を通じて、総ての患者に同じメッセージを伝えます。年に1回はHTCで総合的な検診を受け、肝炎ワクチンの接種を検討し、適切な治療を受けましょう。今日の午前中、将来の医療に関して様々な意見、不安が聞かれました。私たちが今やらなければいけない事として、肥満を避け関節を護るための適切な運動、特に血漿由来製剤を使用していた場合には血液由来の感染症の検査もあります。



これらを各国の患者会が実施しようと考えた場合には、WFHとして相談に乗ることが出来ます。午前中、世代によって異なる問題を抱えているという話を聞きましたが、私たちは、進学、就職、高齢になった際などの具体的な問題に対応するための累積した経験も持っています。

医師との協働について再三述べてきましたが、WFHは、医療の顧問委員会（Medical Advisory Board）の設置を勧めており、多くの加盟国がそれを実行しています。この組織は必ずしも医師だけではなく、私たちは、血友病医療に多職種の人たちがチームとして関わってくれることを考えているので、理学療法士、歯科衛生士、歯科医、整形外科医、検査技師、ソーシャルワーカー



なども含まれます。既に家庭輸注を行なっている患者は、その重要性をよく知っていますが、これから始める人に対しては、医師や看護師の助言が役に立ちます。

患者会にとって難しい問題として、大きな意味での「業界」とのパートナーシップがあります。血液製剤のメーカーはしばしば経済的なサポートを行ない、専門的な知識や経験を持っていますから、患者はそれらを効果的にかつ倫理観を持って利用すべきですが、そこには透明性が必要で、ガイドラインや合意を設け、患者の立場とメーカーの立場を中立的に見定めることが重要です。患者が何を求め必要としているのかを明確にしてから彼らとのパートナーシップを求めるべきであり、最初から言われるままになってしまうと、先方の思うように動かされてしまいます。境界線を明確にした上で、自主性や透明性に基づき、双方にとって建設的な関係を築きましょう。単純に業界の関与を避けようとしても、現実的ではありません。

Industry Partnership

- "If we are to continue to efficiently produce adequate supplies of life-saving therapies such as ... hemophilia clotting factors, we need to renew efforts at collaboration between industry, government and the physician-patient community, ..."
- The priorities the industry must focus on over the next few years include: ... Involving patients and customers more directly in developing industry guidelines and shaping the future of the industry:..."

Dr. Ruedi E. Woeger, Chairman Global PPTA Board, March 2003

どうすれば強い患者会になれるのか、一つの全国組織がまとまった声を上げることにより、強い患者会が生まれます。それぞれの国がそれぞれの枠組みに基づいて考えています。各国の条件によって異なる部分はあるものの、幾つかの共通点も認められます。一人のリーダーがいつまでも続けることは出来ません。私の任期は8年で、残りはあと2年です。リーダーが一定期間継続することは必要ですが、長過ぎると次世代への移行する機会を失います。一つの大きな患者会に結集することは良いのですが、同時に、総ての患者一人一人の能力を伸ばすことも患者会のやるべき仕事です。そのためには確固とした考えに基づく計画と、その実行が必要になります。

Considerations to Achieve an Empowered NMO

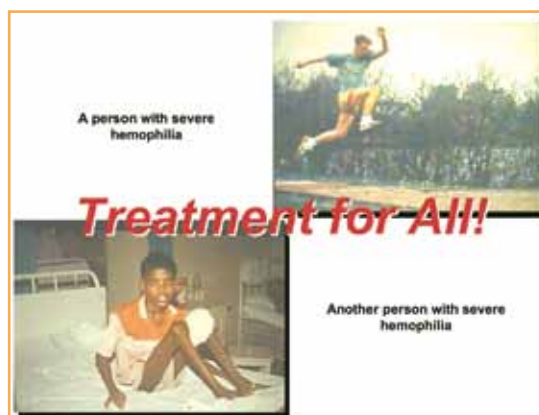
- One national organization
- Legal entity with a living constitution
- Strong leaders & board members with succession planning
- Adequate financing
- Both educational & fun activities
- Strategic planning
- Medical collaboration
- Industry Partnership
- Good international networking

賛同していただけるでしょうけれども、私の希望として、国際的な視野を持ってほしいと思います。お金に限らず、国ごとに独自のリソースを持っている場合もあるので、相互に活用することが出来れば、世界中の患者の生活が向上するでしょう。WFH に加盟している各国の状況——生存率、QOL、安全で有効な製剤の使用など——が全国組織の頑張りによって改善されていくことが、WFH の実績であると思います。

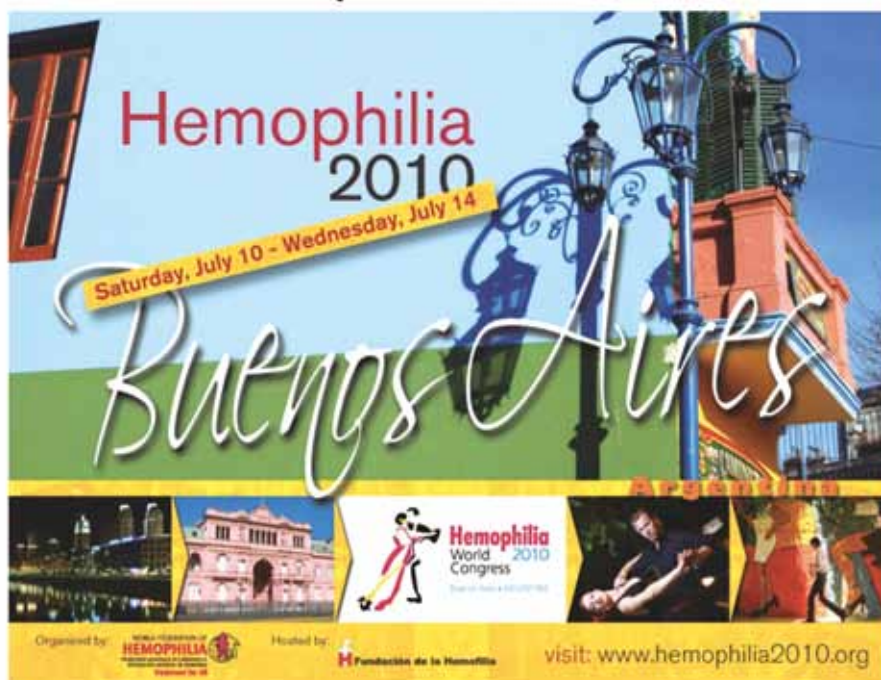
非常に重要な点は、患者が自分の運命や治療を自分でコントロールすると信じられることで、それによって一人一人も力づけられますし、全世界の血友病コミュニティも力づ

End result

- Better Survival / Quality of Life
- Specialized medical team approach
 - Easy access to expert treatment
- Access to safe / efficacious treatment
 - Home treatment and better physical outcomes
- Patients in control of their own destiny
 - Patients are educated and trained



We Hope to See You There



けられることになります。“Treatment for All” というビジョンが実現することを願っています。最後に、この夏にブエノスアイレスで開催される WFH 総会に参加すると言ってくれた人もありました。長旅になるでしょうけれども、ブエノスアイレスで、また色々なお話をしましょう。ありがとうございました。

世界血友病連盟（WFH）特別講演 2

各国で用いられている血友病患者への包括医療モデルについて （血液学者、基礎研究者、理学療法士、ソーシャルワーカー、歯科医師、整形外科医、看護師）

製剤及び治療プロトコルについて ー当該分野における新たな展開も交えてー

アリソン・ストリート ALISON STREET

（世界血友病連盟 医療担当副会長）



オーストラリアのメルボルンにあるモナッシュ大学医学校を卒業後、メルボルンやシドニーで内科と血液学を学び、臨床血液学と実験血液学の両部門で血液学を専門としてきた。また、米国のボストン市セント・エリザベス病院でポストドクトラル・フェローシップ・トレーニング（Postdoctoral Fellowship Training）を4年間受けた。

1986年以降、メルボルンのアルフレッド病院血液学部門で、血友病センター及び血栓止血ユニットとさらに血液学ラボなど全域の責任者という特殊な役割を務めてきた。ちなみに血友病センターには、血友病や他の出血性障害の患者が800人以上登録をしている。

これまでの経歴で特筆すべきは、オーストラリアとニュージーランドの血液学協会の会長、オーストラリア血栓止血学会副理事長、及びロイヤル・カレッジ・オブ・パスロジスト・オブ・オーストラリア（Royal College of Pathologist of Australia）にて血液学のトップ審査官を務めたことなどである。

現在はモナッシュ大学の医学部、病理学部、及び免疫学部で臨床助教授（Clinical Associate Professor）をしているが、傍ら長年の間WFHにおいてもボランティア活動に従事してきた。2002年からは執行委員会の役員を務め、現在、WFHの医療担当の最高責任者である医療担当副会長である。

マーク会長から広がりを持つお話がありました。ありがとうございます。私が本日お話ししたい内容は、そこでも触れられていた包括医療の恩恵についてです。包括医療とはどういうものでしょうか。定期補充や家庭輸注の恩恵について、患者と医療者の協力関係、ここでは医療費を支払う側との協調も重要です。また、将来に向けての我々の期待、WFHの活動・取り組み、

Benefits of Comprehensive Care

Alison Street
Alfred Health, Melbourne Australia
Vice President Medical WFH



- The principles and practice of comprehensive care
- Benefits of access to prophylaxis and home treatment
- Opportunities for patient-clinician-funder engagement
- WFH initiatives
- A view to the future





WFH がなぜ包括医療を推進しようとするのかについてもお話します。日本においても、素晴らしい未来が拓けていると思います。

Comprehensive Care

What it is and

Why we recommend it



A definition

- Comprehensive Care is the continuing (lifelong) supervision of all medical and psychosocial factors affecting the person with hemophilia and other bleeding disorders.
- This usually involves family members too.



私の定義では、包括医療とは、血友病あるいは出血性の患者に対する一生を通じた教育、指導により、心と身体の健康、社会的側面の総てを管理していくということです。その場合には、もちろん家族も対象に含まれます。包括医療の背景にある考え方とは、血友病の患者・家族は、正しい診断を受け、的確な管理を受けるという特別のニーズを抱える少数派であるということです。血友病の臨床医は、多くの患者を診療

して経験を積むことにより、関心を深め、専門的な知識を蓄積し、患者の信頼を得ることが出来ます。総ての小児科医、血液内科医が血友病の専門家になるわけではありません。従って、それらの中から、血友病について理解し、経験を積んでいる医師を求めて治療を受けることが重要です。

What is the philosophy?

- Patients with hemophilia and their families are a "minority" population with special needs for diagnosis and treatment
- Clinicians develop interest, expertise and the confidence of the hemophilia community when exposed frequently to hemophilia care



包括医療の概念は、英国のオックスフォードで、次いで米国のロサンゼルスで 1960 年代の終りから 70 年代初めにかけて作られました。今朝の発表にもありましたが、濃縮製

剤が出る前の当時、治療法は極めて限られていました。でも、患者をまとめて関心を持つ

医師とつなぎ、当時の診断によって改善しようという試みは行なわれていました。その後、生まれた考え方が慢性疾患の管理です。血友病は慢性疾患の一つですが、80年代からは包括医療のモデルを用いたほうが患者にとっての結果がより良いものになることが認識されました。

慢性疾患の管理が有効に行なわれるためには、必要な幾つかの条件があるので、それを血友病の場合で考えてみたいと思います。まずは患者と家族に対する教育で、様々な方策を活用することが可能であり、マーク会長がお話したような家庭輪注が可能となる基礎となります。それから、血液内科医だけではなく、他科の医師、看護師、他職種のスタッフによるチーム医療が必要です。かかりつけの医師は、受け持っている患者を色々な専門家からなるチームに診てもらう必要があると気づくことが大事です。患者の情報、治療の状況について、包括医療を行なっている病院と連携するネットワークが必要になります。

これもマーク会長の話につながりますが、患者の登録データベースや等しい治療を受けられるガイドラインのような適切な臨床支援システムを各国で作ることも重要です。治療は長期に及ぶので、中心はあくまでも患者です。病院の協力——病院の運営側が包括医療の意義を理解し、サポートしてくれることも必要になります。

包括医療プログラムがどのような役割を果たすかという、患者・家族のために治療及びサービスの提供あるいはコーディネートを行ないます。正しい検査と診断、それに基づく正しい教育と治療です。これには、学校や職場に対する教育も含まれます。出血を減らすため、また、出血に早く気づくための教育も行なわれます。

包括医療を行なう HTC (Hemophilia Treatment Center: 血友病センター) では、適切な補充療法と応急処置の仕方を教えるこ

The Concept

- Developed in Oxford UK and Los Angeles USA in 1960's and 1970's
- An early and enduring model of "chronic disease management"
- Benefits in terms of improved health and psycho-social outcomes published from mid 1980's



Important Systems for Quality Chronic Disease Management (As Applied to Hemophilia Care)

- Patient education, including access to resources, education programs and self management (home therapy)
- Staffing –specialist physicians, nurses and allied health practitioners
- A multidisciplinary team approach including referral and shared care practices between clinicians and external health providers
- Clinical support systems in place (eg. Registries, templates/guidelines)
- Focus is patient-centered and on long term care
- Support from Institutional administrators



Functions of a Comprehensive Care program (1)

The comprehensive care team *provides or coordinates care and services* to people with bleeding disorders and their families. These include:

- Carrying out tests necessary for the *definitive diagnosis* of hemophilia and other inherited bleeding disorders.
- Educating patients and parents regarding safety precautions for prevention of bleeds and early identification of bleeds.



とによって、出血を管理します。関節と筋肉を強化して出血を減らすために、定期的な運動を勧めます。出血後、機能の回復を促進させるためのリハビリも重要です。そのためには、患者ごとに出血のパターンは違いますから、治療計画を見直さなければなりません。同じような疾患でも、関節の状態は人によって異なります。ストレスや家庭の状況など、何らかの原因で出血が起きやすくなることもありますから、それぞれに合わせて出血を減らす方法を考えるのです。また、関節症をはじめ、インヒビター、血液由来の感染症のような合併症も管理しなければなりません。

包括医療においては、医療者に対するトレーニングも行なわれます。通常、HTCの責任者は血液内科医です。でも、血液内科医の総てではなく、その一部が血友病に関心を持っているということを判って下さい。臨床検査技師、新しい治療法を見つける研究者、慢性疾患に関する訓練を受けた血友病に詳しい看護師、歯科医、理学療法士などが協力して HTC あるいは病院で仕事を進めます。

右の図は包括医療のモデルですが、中心に存在する患者の周りに、多くの医療者と、その人たちの意見を聞きながら方針を決める血液内科医が居ます。昨日の分科会では、歯科治療に関する興味深い話が聞かれました。病院は、凝固異常症の治療経験がある歯科医に連絡を取ることが重要です。ソーシャルワーカーやカウンセラー、あるいは患者会のスタッフによる社会的サポートも必要になります。その他、関節症を診る整形外科医、感染症の専門医、肝臓の専門医、色々な人によってチーム医療が可能になるわけです。

血液内科医の基本的な仕事は、患者と情報を共有するとともに、その患者の治療内容を把握し、必要に応じて見直ししながら維持することです。そこには、もちろん予防も含まれます。血液内科医は、他の専門家に対して、いつ出血性疾患を疑うかを伝え、その可能性

Functions of a Comprehensive Care program (2)

- Managing bleeding episodes with appropriate treatment products and first aid.
- Promoting regular exercises to maintain good muscle and joint health and providing rehabilitation services for restoring function after bleeds.
- Developing and regularly updating a management plan for each patient.
- Monitoring and managing complications of hemophilia and its treatment such as arthropathy, inhibitors and transfusion-transmitted infections.

WORLD FEDERATION OF
HEMOPHILIA
FEDERATION INTERNATIONALE DE CHANGEMENT
FEDERACIÓN INTERNACIONAL DE HEMOFILIA

Who needs to be trained?

- A Center Director, usually a haematologist
- Laboratory scientists
- Nurses
- Physiotherapists
- And many other clinicians, dependent on the needs of the patients and possible links with other clinical programs

WORLD FEDERATION OF
HEMOPHILIA
FEDERATION INTERNATIONALE DE CHANGEMENT
FEDERACIÓN INTERNACIONAL DE HEMOFILIA



のある患者を紹介してもらうように努めなければいけません。正しい治療を行なうためには、正確な臨床検査が必要です。緊急時には、患者は HTC へ駆けつけられるとは限りませんから、救急施設において適切な治療を受けることが出来るように、患者や家族との連絡・確認を図っておきます。

包括医療のためには、定期的な検診が生涯続きますが、その頻度は、重症の場合、6～12 ヶ月に 1 回（HIV や肝炎のような合併症を持っている患者の場合は、もっと頻回）、中等症、軽症の場合は、12～24 ヶ月に 1 回となります。1 回の包括医療では、患者は多くの科、立場の人を順番に回り、診察や話し合いが行なわれます。そして、色々な検査を踏まえ、チームの中で情報を共有し、前回の所見と比較し、治療方針を見直します。このように皆が一同に会し、カンファレンス(症例検討)を行なうのです。

What do they need to know?

- How to suspect and diagnose a patient with a bleeding disorder
- How to ensure that the laboratory diagnosis is correct and treatment is effective
- How to recognise and treat emergency and other common presentations of bleeding
- How to advise the patient and his family of these presentations to ensure early treatment



In the Comprehensive Care Clinic

- Patients are seen regularly throughout life (minimum of every 6-12 months for patients with severe hemophilia; every 12-24 months for patients with moderate or mild hemophilia)
- Each patient seen in turn by core team members: hematologist, hemophilia nurse, (psycho)social worker, physical therapist) for specialty-specific review
- Appropriate lab testing (e.g. inhibitor screens)
- Communication between team members after clinic to update treatment plan and/or refer to second tier specialists (orthopedics, dentistry, rehab, hepatology, infectious diseases) as needed.



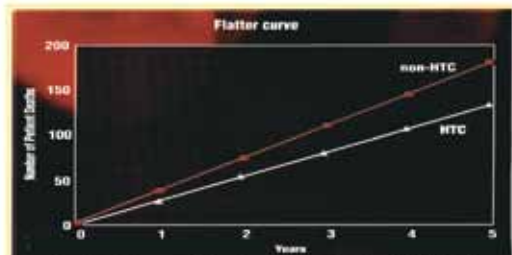
Benefits of Comprehensive Care (1)

- Studies show that **mortality and hospitalization rates decrease in persons with hemophilia treated in a hemophilia treatment centre (HTC).**¹



Source: [1], et al. Mortality among males with hemophilia: evidence with access of medical care. Blood 2000; 96:437-441.

The Case for Hemophilia Treatment Center Care



Projected number of deaths among 1,000 patients receiving care inside and outside of HTCs. Based on mortality rates of hemophilia in the U.S. states from 1993 to 1995, there would be 45 excess deaths per 1,000 patients not receiving care in HTCs after five years.



Source: [2], et al. Mortality among males with hemophilia: evidence with access of medical care. Blood 2000; 96:437-441.

私たちが包括医療を強く推奨する理由は、それが患者にとってとても良いものだからです。これは長年に渡って集められた登録データベースに基づく研究ですけれども、10 年前に発表された CDC（米国疾病予防管理センター）のデータによれば、包括医療を行なっている HTC で治療を受けている患者は、そうでない患者に較べて、死亡率や急性の症状による入院が 40% も減っていることが判りました。他の国では、このようなデータがないために結果が出ていませんが、同じ状況であると思います。

症状の軽い患者が受診する機会は外傷や手術の時に限られ、血友病の自覚は乏しく、HTC のメリットは意識されないかもしれません。でも、たとえ軽症であっても、包括医療を行なっている HTC に登録して治療を受けることは重症の患者と変わらず必要です。

多くの患者を診察すれば、経験を積むことにより、医師の得られるものも大きくなります。医師はそれだけ自信を持ち、状況に立ち向かうことが出来るわけです。臨床的な管理とは、単に製剤を使うことだけではありません。患者と協力して、それぞれの人にとって最善の治療を探します。このようなやり方によって製剤が有効に使われ、全体的なシステムのコストを削減することも出来ます。HTC 以外の施設との協同により、適切な治療が行なわれます。

多くの患者や家族は、運動、リハビリのプログラムへの参加をためらいがちです。整形外科医や理学療法士は、定期的な運動によって筋肉が強化されて関節を護り、出血が減ることのメリットを説明し、ぜひ勧めてほしいと思います。

包括医療により、HIV や C 型肝炎のような合併症を持つ血友病患者の QOL も改善されます。肝臓の専門家であっても、出血管理に詳しくない医師の診断を受けることは芳しくありません。血友病を知る医師と肝臓を知る医師が一緒になったチーム医療が望ましいのです。

良いチャンスだと思うのでお話ししますけれども、NMO（National Membership Organisation：血友病の全国組織）や HTC は、保因者の発見——遺伝カウンセリングに協力することが重要だと思います。それにより、保因者自身が軽度の凝固異常を持っていることを把握できるかもしれませんし、出産にあたって事前に赤ちゃんのリスクを知り、血液内科医と産科医が協力して慎重な分娩に備えることが出来るので、安全に赤ちゃんを産めるという安心感が生まれます。

患者や家族に対する適切な教育により、出血を早く把握し、早期に治療することで後遺症を小さくすることが出来ます。地域の医療者や学校が教育プログラムに参加して、患者のニーズを知ることも重要です。

Benefits of Comprehensive Care (2)

- A multidisciplinary comprehensive care team develops and maintains the necessary experience to provide appropriate treatment (including clinical management as well as clotting factor concentrates).
- Familiarity with and prompt recognition of bleeding and treatment leads to more effective use of expensive replacement therapy which can actually decrease overall costs to the Health system.



Benefits of Comprehensive Care (3)

- Resources used more appropriately (hospitals, diagnostic laboratories, and emergency and community services).
- Implementing preventive care and exercise programs in a timely fashion helps strengthen joints and muscles, which can prevent bleeding and reduce the consequences of recurrent bleeding episodes.
- Special considerations for treating related complications such as HIV and hepatitis C in people with hemophilia --> improved quality of life



Benefits of Comprehensive Care (4)

- Carrier detection and genetic counseling can help identify the possibility of having a child with a bleeding disorder.
- Appropriate patient and family education improves both the recognition and prevention of bleeds and faster recovery from established bleeds.
- Education of local healthcare workers, school and workplace personnel to ensure that the patient's needs are met.



Summary (1)

Comprehensive care is central to treating the physical, emotional, psychological, social, and educational needs of patients with bleeding disorders and their families.



Summary (2)

- And these benefits extend to the patient and family
- To Clinicians and to
- Funders and the wider community



まとめますと、包括医療とは、患者・家族の身体的、感情的、精神的、社会的、教育的なニーズの総てについて提供されるものなのです。そして、それだけではありません。医師にとっても勉強になり、関心も深まって、より良い医療を提供することが出来るようになります。また、医療費を支払う側にとっても、お金が効果的に使われるというメリットをもたらします。

次に、定期補充療法と在宅治療の意義についてお話しします。関節出血を予防することは、子供たちの関節を保護し、QOLを高めるために重要です。凝固因子量が1%未満の重症の人は、何もしなくても関節に出血しますが、1%以上の中等症、軽症の場合、ほとんど問題は起こりません。つまり、1%を境に出血のリスクには大きな違いがあるわけです。重症の患者にとって、1%以上の凝固因子レベルを維持することは大きな意味を持ちますから、これが定期補充の目的となります。

Benefits of access to prophylaxis and home treatment (1)

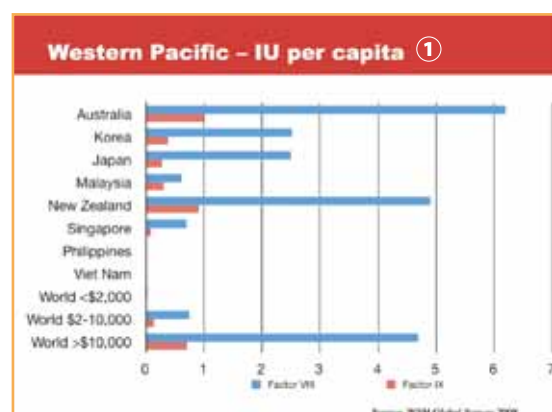
- By avoiding or minimising joint bleeding, children grow to adulthood with improved health, educational outcomes and quality of life.
- This can be achieved with the early introduction of prophylaxis in patients who have severe hemophilia
- This is usually started before the age of 2 years and linked to a home treatment program
- Home treatment can also be used "on-demand"



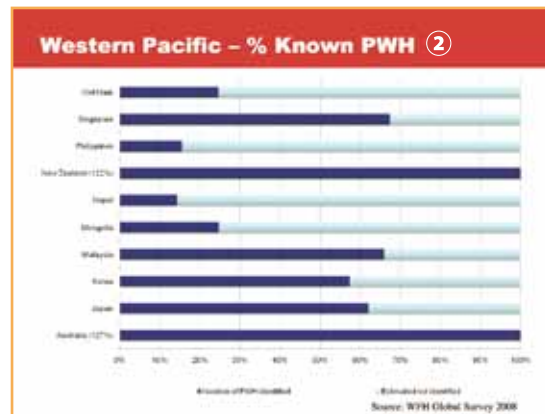
一般的には、定期補充は2歳未満で開始します。静脈穿刺が困難でなければ、在宅治療（家庭輸注）のほうが容易です。在宅治療の場合、定期補充を行わない場合でも、出血が起きた時点の早期投与（オン・デマンド）は有効です。

①の表は、西太平洋地域における第VIII因子と第IX因子の国民総人口1人あたりの使用量です。出血時の治療や待機手術への対処は十分に行なわれているとしても、日本はGDP世界第2位の国である割には、世界の先進国に較べて低い数字となっています。

各国に血友病患者が何人居るかを推定する計算式があり、それに基づくと、厚生労



働省のまとめた日本の患者数は、私たちの予測値よりもかなり少ないのです（スライド②参照）。実際に日本の有病率は低いのかもしれませんけれども、理由は判りません。日本の製剤使用量は、同程度の GDP の国に較べて低いように見え、これは患者が少ないからかもしれませんが、さらに分析していただく価値があると思います。定期補充プログラムが普及すれば、日本においても製剤使用量は増大することでしょう。インヒビター抑制のプログラムによっても増大が予想されます。



定期補充には、出血を起こしたことの無い関節への予防的な一次的補充と、出血を起こした関節への——成人に対して行なわれることの多い——二次的補充があります。出血を繰り返す関節（ターゲット・ジョイント）がある場合も、短期的な定期補充によってかなり改善が期待されます。その他、関節内にステロイドなどを注入するというような対処法もあります。

Benefits of access to prophylaxis and home treatment (1)

- Short term prophylaxis for recurrently bleeding joints ("target joints") is effective with other therapies in patients not otherwise on prophylaxis
- Access to home treatment reduces costs of care and allows patients to treat bleeds early

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

定期補充を行なっている患者・家族にとって、生活習慣に合わせた投与、出血に対する早期の投与が可能となる在宅治療はとても重要です。これは、製剤の使用量削減、入院などの経費削減につながりますし、患者に責任を持たせ自立を促すことにもなると思います。

このように、医師と患者の協力によって可能となるものがあります。マーク会長の話にもあったように、計画を立て、活用できる物事を共有し、教育や情報啓発の機会を増やし、患者が本当に必要な事、知りたい事を伝えることが出来るようになり、より良いケアが提供されます。良いデータを集め、どのように分析して社会的に活用するかを考えていく必要もあります。日本においても遺伝子療法に関する研究などが進んでいますが、そのリスクとベネフィットも考えていかなければならないでしょう。これらのプログラムを維持するためには、支払い側、当局との協力が欠かせません。そういう意味では、“結婚”のような共同作業かもしれません。

Benefits of collaboration between clinicians and patients

- Opportunities to share strategic plans and resources
- Enhanced educational activities within and outside the centre
- Consideration and performance of clinical research
- Presentation of a combined voice to funders and other authorities to seek and sustain support for programs

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

Examples of collaborative activities	WFH Initiatives
• Involvement in the processes of selection and purchasing of factor concentrates • Development of accurate data registries including complications of hemophilia treatment • Development of programs to implement prophylaxis, immune tolerance, inhibitor treatments etc • Genetic counselling and testing programs	• Broadening the scope to caring for all patients with bleeding disorders e.g. women, von Willebrand disease • Encouraging clinical research with a major focus on patient education and assurance of safety • Supporting professional development through congresses and programs to recruit and retain committed clinicians

患者と医療者による共同作業としては、適切な製剤の選択や購入への関与、合併症を含めたデータを登録するシステムの構築などがあります。WFHの提言としては、従来の血友病＝男性の病気という概念を変え、フォン・ヴィルブランド病や女性の凝固異常症を視野に入れることにより、総ての止血異常の患者さんたちに私たちの知識や経験を伝えることが可能であると考えています。安全性を重視した社会的および臨床的研究の奨励、国際会議を通じて臨床医をリクルートし、その雇用への支援も図ります。

A view of the future	Key components of Comprehensive Care
• Development and maintenance of comprehensive care programs to include safe, effective and sufficient supply of factor concentrates with prophylaxis and inhibitor management as "standard of care" • Continuing research and development of novel products, including gene therapy and improved inhibitor management	• Engagement and education of patients • Training of clinical leaders • Provision of credible data to funders to support comprehensive care programs including product costs • Promotion of a culture of research and collaboration

未来を考える時、包括医療は重要であり、定期補充療法やインヒビター管理に鑑みても、安全で効果的な製剤の十分な供給を望んでいます。新しい製剤や遺伝子療法などに関する研究への支援も行ない、良い結果が出てほしいと考えます。

包括医療は患者のためになるといっても、具体的には、患者に習得してもらわなければならない事柄が色々ありますし、医療者との対話を実行してもらわなければなりません。患者を力づけ、教育するとともに、リーダーとなる医師の育成を支援することも大切です。製剤コストの負担を含めて包括医療プログラムを支援するため、支払い側に対する正しいデータを提供し、研究と共同作業の文化を作り上げたいと思います。ありがとうございました。