

## *Working Together to Achieve Treatment for All*

すべての人への治療を可能にするための協働

### The WFH and National Hemophilia Organizations WFHと血友病全国組織

Mark W. Skinner マーク・スキナー  
WFH President WFH会長



18 March 2010 - Japan National Forum – Tokyo, Japan

## WFHとは?

- 1963年創設の国際機関非営利組織
- 1969年に世界保健機構(WHO)が認証
- 113カ国それぞれのヘモフィリア全国組織がメンバー
- 医療者、非医療者のボランティアたちによるネットワーク
- 本部はカナダのモントリオール(スタッフ25人)
- 運営委員会メンバー決定は選挙制(15人)



## 世界の現状

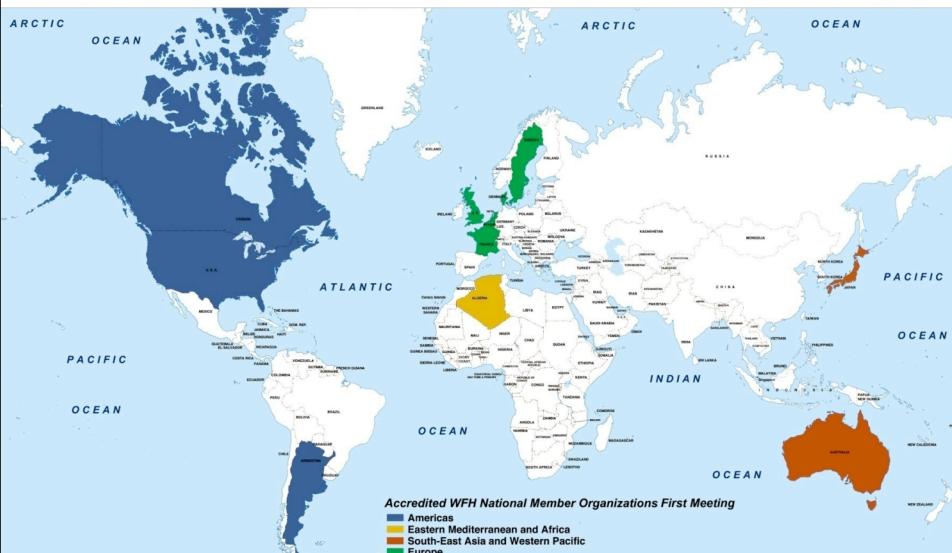


- 70% 未診断
- 診断後 75%は未治療
- 現実は – 多くが若いうちに亡くなり、成人になったとしても重篤な障害を抱えている

## WFHの活動理念

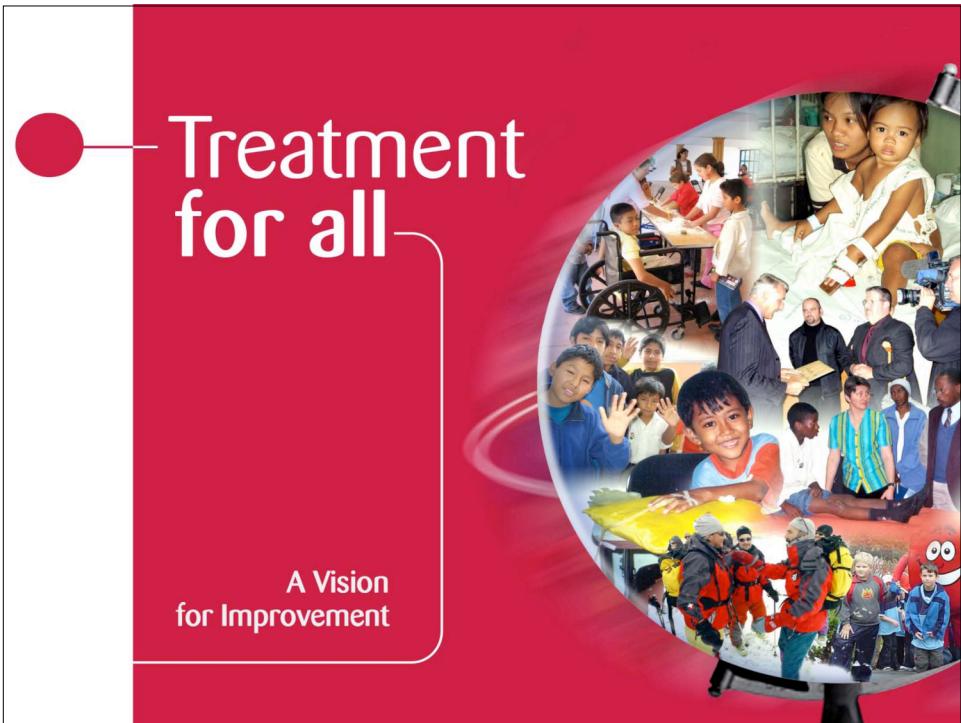
WFH(World Federation of Hemophilia)は  
世界中に住む先天性凝固異常を持つ人々への  
ケアを改善し、維持していくために活動していく

## WFH 設立- 1963年



## WFH NMO(各国代表)





## WFHのビジョン

### すべての人へ治療を

- 先天性凝固異常をもつすべての人へ安全で効果的な治療薬品を供給可能にします。
- 訓練された専門家チームによる適切な診断、疾病管理、治療を目指します。
- 血友病に限らずウィルブ蘭ト氏病、稀な凝固因子欠損や先天性血小板障害の方々へもサービスを提供できるようにします。

## World Hemophilia Day 2010



The Many Faces  
of Bleeding Disorders

HEMOPHILIA Treatment for All

United to achieve Treatment for All

There are many different types of inherited bleeding disorders that affect both males and females:

- Hemophilia
- Hemophilia symptomatic carriers
- Rare clotting factor deficiencies
- Inherited platelet disorders

WORLD HEMOPHILIA DAY | APRIL 17

For more information,  
visit [www.wfh.org/whd](http://www.wfh.org/whd)

## WFHの事業内容

- ・ヘルスケア開発や改善のプログラム
- ・教育資料、情報啓発向けのインターネットサイト
- ・公共政策
- ・データや人口統計
- ・国際会議
- ・活動資金集め

## すべての人への治療という目標を達成する

WFHのビジョンを具現化するためにお手伝いします:

- 対象国で国内医療プログラムを開発、実施する
  - GAPプロジェクト
  - カントリープログラム
  - スペシャルプログラム
- 新しいトレーニングや教育のツールを提供し、すべての国々でのヘルスケアを改善する



## 進歩のためにグローバルな連帯を

隔差をなくす  
先進国と  
開発途上国では  
ケアの質に  
差があります。



### 参加国名 2003-10

- アルメニア
- アゼルバイジャン
- 白ロシア
- 中国
- エクアドル
- エジプト
- グルジア共和国
- ヨルダン
- レバノン
- メキシコ
- ペルー
- フィリピン
- ロシア
- シリア
- タイ
- チュニジア

## WFH トレーニングと教育向けリソース

治療関連でのガイドブックや  
トレーニングモジュールを扱った小冊子の資料を  
100 以上もの多言語で用意しています。

## WFHの開発モデル

サステナブル(持続可能な)ケアを  
目指して開発され  
実証済みのモデル

## WFHが開発したモデル

1. 正確な診断を確立する。
2. 相互利益の連携を作る。
3. 包括医療を推進する。
4. 治療薬剤の供給可能性を増大する。
5. 患者の主体性を伸ばす。

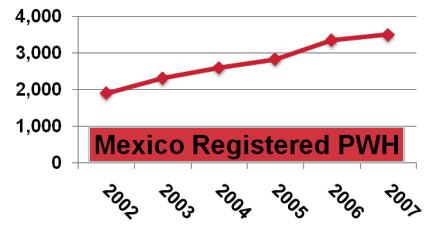
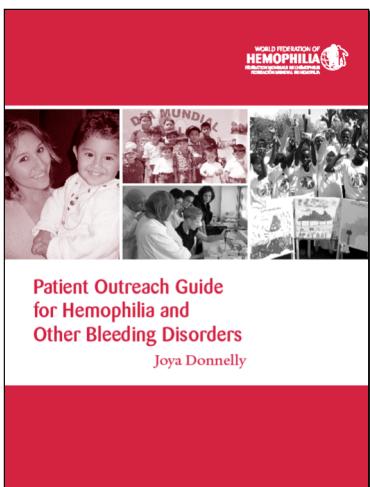


### 1. 患者として数えられることの重要性

アウトリーチ  
ラボで正確な判断をしてもらえるように援助する

患者の全国登録制度を設立

## 患者向けアウトリーチ



Source: WFH Global Survey 1999-2006; 2007 est.

## ラボで正確な判断を

- ラボ作業の教育
- 国際外部品質保証スキーム  
International External Quality Assurance Scheme (IEQAS)



# 多人数が大きな力

*"Data collection is not an end in itself, but a means to build, preserve and promote the overall quality of care."*

Dr. Angelika Batorova  
Slovak Republic

データコレクション自体が目的ではなく、それは医療を作り上げ  
全体的な質を維持し改善し  
続けるツールにすぎない。

**Count Me In**

There is strength in numbers

Having accurate statistics on the number of people with bleeding disorders:

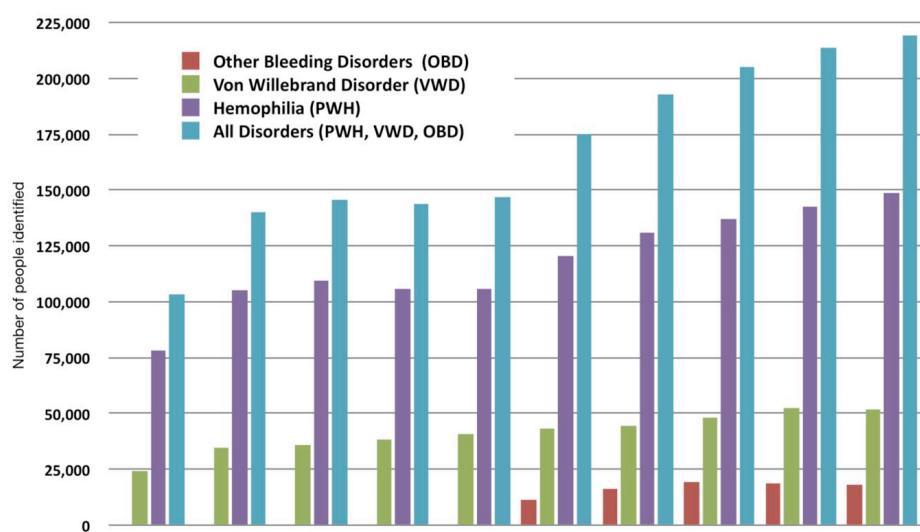
- Identifies how many people are affected
- Helps ensure that they get the necessary treatment
- Validates claims with health authorities
- Builds support for a national hemophilia program

World Hemophilia Day focuses on identifying all patients with bleeding disorders.

Contact the WFH for further information.  
Tel: +1 514 875 7944 – Fax: +1 514 875 8916  
wfh@wfh.org – www.wfh.org

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA  
INTERNATIONAL FEDERATION OF HEMOPHILIA  
FEDERATION INTERNATIONALE DE L'HÉMOPHILIE  
Treatment for All

## グローバルな患者数の増加 (WFHグローバルサーベイ)



Source: WFH Global Survey 1999-2008

## 2. 相互利益連携を作り上げる

全国プログラムに政府からの支援を実現する。

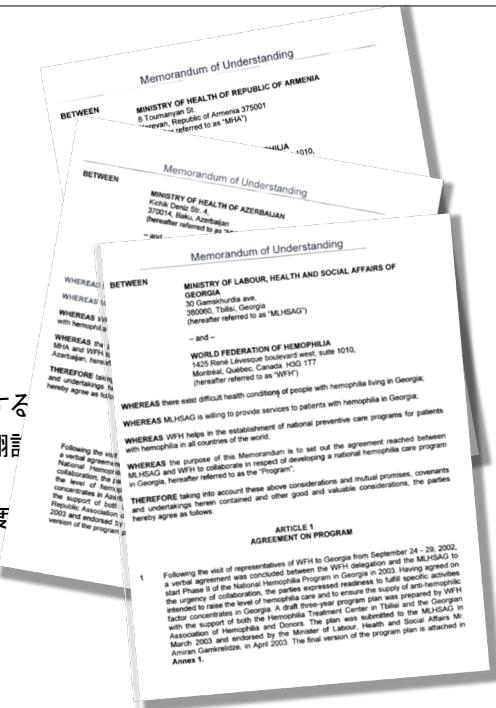
### 政府支援の達成

政府官公庁  
医療専門家  
患者とその家族たち



## 政府との合意書

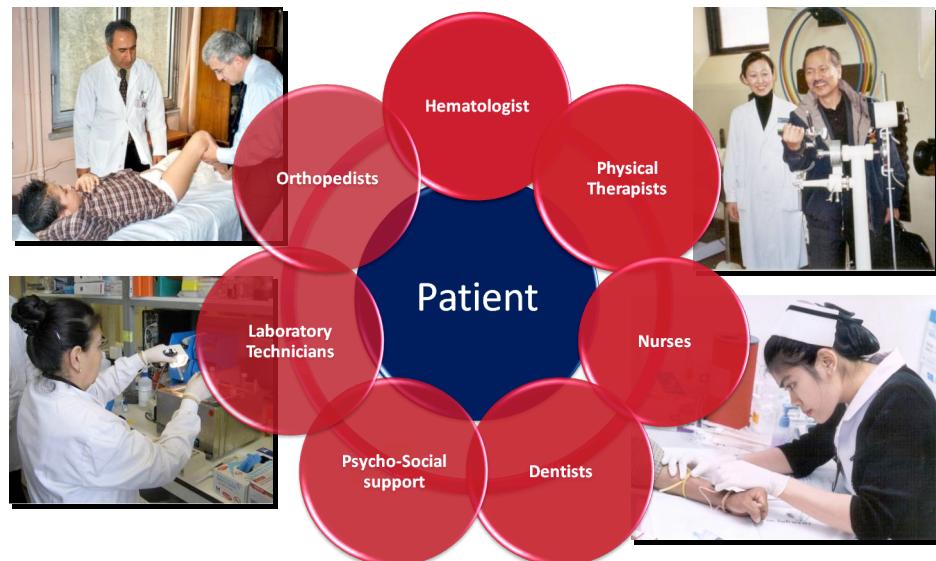
- 保健省
  - 全国プログラムを創設する
  - HTCを設置する
  - 製剤購入量を増大する
  - 全国登録制度を創設する
- WFH
  - 医療チームをトレーニングする
  - 教育的資料を必要言語に翻訳する
  - ラボをIEQAS(国際外部精度評価事業)に参加させる
  - 患者団体を強化する



## 3. 包括医療の推進

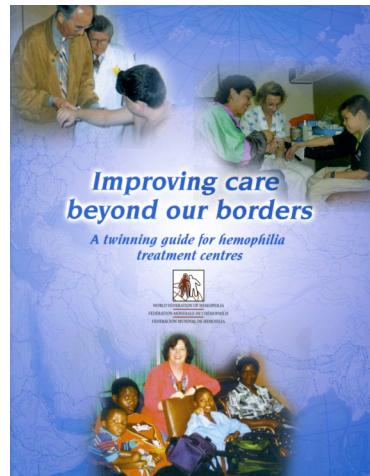
医療やケアの提供方法を改善する

## 包括医療システムの改善



## WFHヘルスケア開発プログラム

- NMOスキルトレーニング
- 全国組織とセンターがツインプログラムに参加
- 人道的な援助
- 医療トレーニングのフェローシップ
- 多職種連携ワークショップ
- ラボの IEQAS



## 4. 治療用薬剤の供給増大を目指す

価格と供給 – 購入可能な価格、安定供給  
薬効と安全性

1960年代、“ピーナツでヘモフィリアの出血をコントロール”



# 治療製剤の選択

## 血漿由来とリコンビナントは両方とも重要

- 双方に確実な安全性
- どちらか一方だけの供給では十分ではない
- 製品価格に幅
- 治療上の有益性
  - 稀な因子欠損やVWD 向けの治療
  - 患者、または医師の評価
- 柔軟性の維持
- 副作用や有害反応のリスク

## WHOのモデルによる必要不可欠な薬剤リスト

WHO Model List of Essential Medicines for Children

First List, October 2007

### 11.2 Plasma fractions for specific use

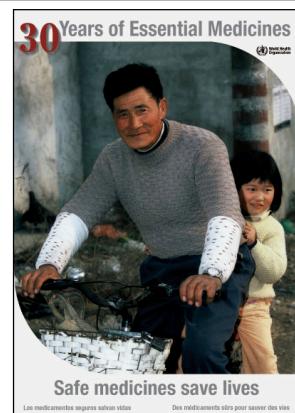
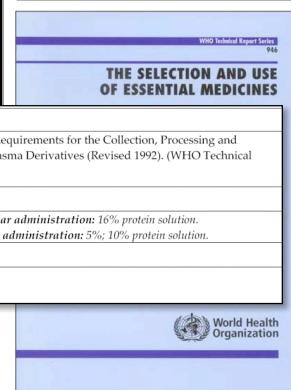
All plasma fractions should comply with the WHO Requirements for the Collection, Processing and Quality Control of Blood, Blood Components and Plasma Derivatives (Revised 1992). (WHO Technical Report Series, No. 840, 1994, Annex 2).

#### Complementary List

human normal immunoglobulin	Intramuscular administration: 16% protein solution. Intravenous administration: 5%; 10% protein solution. Dried.
factor VIII concentrate	Dried.

*"Essential medicines are those that satisfy the priority health care needs of the population."*

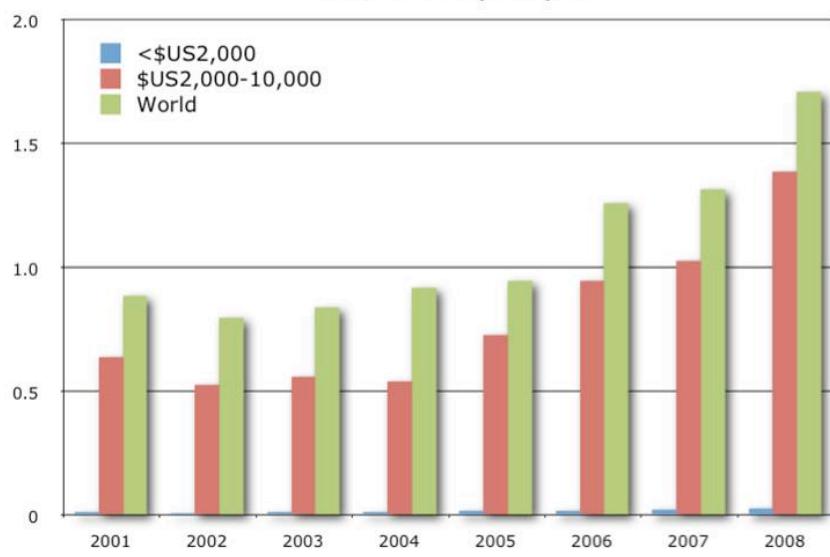
Source: WHO – What Are Essential medicines?



## 治療用製剤の供給を増大させる

(人口一人あたりの第8因子製剤使用量)

Global FVIII use per capita



Source: WFH Global Survey 1999-2008

## 凝固異常症の患者たちが直面する最大の問題は？

1. Blood-borne pathogens.



11%

2. Inhibitors.



34%

3. Price and supply limiting access to treatment.



55%

4. Other.

0%

Source: Proceedings of the 5<sup>th</sup> WFH Global Forum on Safety & Supply - September 2007

# 治療製剤の安全性と供給

The image shows three book covers related to hemophilia treatment:

- GUIDE TO NATIONAL TENDERS FOR THE PURCHASE OF CLOTTING FACTOR CONCENTRATES**  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA  
Under the patronage of the Egyptian Ministry of Health
- Joint workshop of the WFH and WHO on Regulatory Issues Relating to Plasma-Derived Products**  
September 13-15, 2006, Cairo, Egypt
- DAY ONE Wednesday September 13**  
Welcome reception and dinner
- DAY TWO Thursday September 14**  
8:30-8:45 Welcome  
8:45-9:15 Dr. Michael S. Johnson  
- Purpose of the meeting  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
9:15-9:45 Dr. Thomas S. Caskey  
- Epidemiology  
- Clinical presentation  
- TTS  
9:45-10:15 Dr. Michael S. Johnson  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
10:15-10:45 Dr. Michael S. Johnson  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
10:45-11:15 Dr. Michael S. Johnson  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
11:15-11:45 Dr. Michael S. Johnson  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
11:45-12:15 Dr. Michael S. Johnson  
- Overview of hemophilia  
- TTS  
12:15-13:00 LUNCH 12:15-13:00
- PROGRAM**  
Joint workshop of the WFH and WHO on Regulatory Issues Relating to Plasma-Derived Products
- September 13-15, 2006 Cairo, Egypt**
- PROCEEDINGS**
- The World Federation of Hemophilia Fifth Global Forum**  
on the Safety and Supply of Treatment Products for Bleeding Disorders
- September 24 & 25, 2007 Montreal, Canada**  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org)
- GUIDE FOR THE ASSESSMENT OF CLOTTING FACTOR CONCENTRATES FOR THE TREATMENT OF HEMOPHILIA**  
Prepared by Albert Farrugia, BSc, PhD  
for the World Federation of Hemophilia
- WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA**  
INTERNATIONAL FEDERATION OF HEMOPHILIA AND RELATIVES' ORGANISATIONS

## 5. 仲間を力づける

当事者による強固な全国組織を

## 患者たちによる強固な全国組織

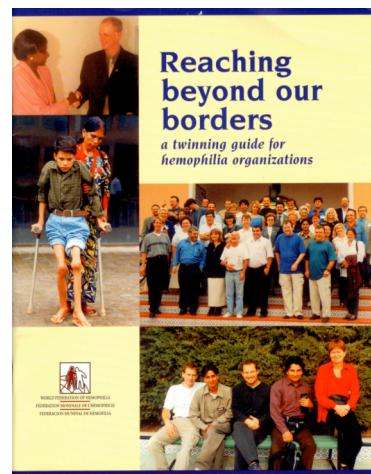
- ・グローバルトレーニング
- ・地域ごとに権利擁護のワークショップ開催
- ・ツインプログラム
- ・教育資料リソース
- ・患者が関与するヘルスケアシステム
- ・新しい家族に働きかけるアウトリーチ



## ヘモフィリア組織の ツインプログラムの組み合わせ

### アジアのツインマッチング

- ・シンガポール - アデライド (オーストラリア)
- ・バングラデシュ - デラウエアバレー (US)
- ・インド - デンマーク
- ・フィリピン - ビクトリア (オーストラリア)
- ・ネパール - スウェーデン
- ・モンゴル - サスカッチワン (カナダ)
- ・インドネシア - オランダ
- ・タイ - オーストラリア



## 力のあるNMOを求めていく理由

- ほんの少し前まではヘモフィリア向けサービスがあまりない  
ということも珍しくなかった
  - 的確な診断を受けた患者も少なく、凝固因子製剤も欠乏  
していたり、存在しなかつたりした。
  - 患者家族はヘモフィリアの症状や病態についての教育を  
受けなかつた。
  - 子供たちは十分な教育の機会を得られなかつた。
  - 多くの人が障害をもち、トラウマを経験した。
  - 多くの人が職に就けず、ふさぎがちであり、社会や家族の  
負担が深刻になつてゐた。

## NMOの目的

- 力ある全国組織は患者コミュニティの質や力を高めることに  
つながる。
- 活動理念 – 国内での治療やケアを推進、維持、改善する
- 全国組織(加盟会員)の主要な業務
  - 権利擁護
  - 教育
  - トレーニング

## NMOを支える人たちは誰?

- ・患者
- ・メンバーの両親や家族
- ・ドクターや看護師
- ・包括医療チーム(理学療法士、臨床検査技師、ソーシャルワーカー)
- ・ボランティア

## 開発途上国でのNMOが抱える主要な課題

- ・経済的な限度
- ・良質なボランティアが少ない
- ・各地の患者会が弱体で連携が難しい
- ・各国ごとの言語による情報の欠落
- ・保健分野の正規職員に対して整合性のとれた接触方法がない
- ・将来展望が乏しい
- ・事務機器や施設スペースの欠如

## 開発途上国でのNMOが抱える主要な課題

- 適切な凝固因子治療製剤が欠如
- 治療のためのインフラが不適切
- 大きな経済的な制約
- コミュニケーション問題
- 凝固異常をもつ人々が集まる場などコミュニティ自体がない

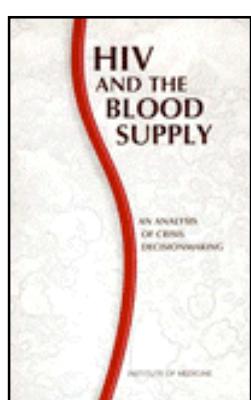
## 各国NMOの責任範囲

- それぞれの開発段階でケアに脅威を与える圧力などがあれば、それを確認し対応しなければならない。
  - 政治的なプロセスやケアの提供システムは変化が続き、常に動的である
  - 環境が変わらないという前提に立って考えることなく、計画も立てない。
- 患者ニーズを理解しなければならない。
  - 新しいニーズに合うように組織を改革していく。
- 医療事業者と緊密に協働しなければならない。
- 一つにまとまった声を上げなければならない。
- 集中度を緩めない。
- 政府の役人と緊密に協働しなければならない。

## NMOの役割、権利、及び義務

- フロントライン
  - 血液供給; 治療の安全性の監視者
- 権利を主張
  - 意思決定の全てのレベルで相談を受ける権利
  - 政府による審議への参加、情報提供を受ける権利
- 治療の進歩においてパートナーとなる
  - 責任を分かち合う
- 基金使用と意思決定についての透明性
  - 独立した判断
- 知識と専門性を開発展開する
  - キーになるボランティアを見分けてトレーニングする
  - 利用されないように気をつけ、患者を守る態勢を作る

## 血液の安全性 – 分かちあう責任



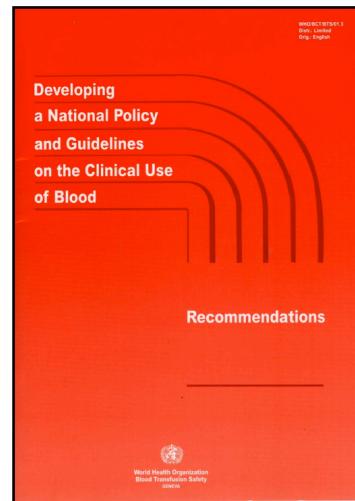
“血液の安全とは多くの多様な組織間で責任を分かち合うことで実現します。

CDCや FDAや NIHに加えて血液銀行や血漿集積機関、血液製剤製造業者など民間セクターの組織や **NHF**のようなグループなどがそれぞれの役割をはたします。”

Source: HIV and the Blood Supply: An Analysis of Crisis Decisionmaking – Executive Summary Institute of Medicine Report 1996

# 世界保健機構 World Health Organization

- 血液の臨床的使用に  
関しての全国委員会
  - メンバー
    - 輸血の臨床面に関与する  
関係組織団体の代表。
    - 非政府組織の例ー  
**Haemophilia Association**  
(ヘモフィリア協会も含まれる)



Source: WHO/BCT/BTS/01.3 - Developing a National Policy and Guidelines on the Clinical Use of Blood

## NHF – 5項目を実行して、 長寿と健康を楽しもう!

1. HTCで毎年総合検査をしま  
しょう。
2. ワクチンの接種をしましょ  
う。  
-A型B型肝炎
3. 出血は早めに適切に治療しま  
しょう。
4. エクササイズをして、関節を保  
護するために健康的な体重を  
維持しましょ  
う。
5. 血液を介して伝染する感染症  
の検査を定期的に受けましょ  
う。



## 医療顧問委員会を設置する

- ・ プログラムの計画やヘルスケアシステム開発には必要不可欠なパートナー
- ・ 多職種チームアプローチ
  - ドクター
  - ナース
  - 病院
  - 整形科医師
  - 理学療法士
  - 歯科医
  - ソーシャルワーカー
  - 臨床検査スタッフ
  - 血液銀行(輸血部門)
- ・ 密着した総合プログラム
- ・ 医療 - 一般人との協力



## 業界とのパートナーシップ

- ・ “血友病向け凝固因子など命を救う薬剤を効率的に製造し適切な供給を継続していくには、新たな努力をする必要がある。…**業界、政府、医師と患者のコミュニティなどの協力が必要になる…**”
- ・ 今後数年間に、業界にとっては次のような項目が高い優先順位となる。…**業界のガイドラインを開発し、将来の業界を作成するにあたってより直接的に患者たちに関与してもらう…**”

Dr. Ruedi E. Waeger, Chairman Global PPTA Board, March 2003  
グローバルPPTA理事会、理事長、Dr. ウエイガー、2003年3月

## 力強いNMOとなるために考えるべき事項

- ・ 単一組織が一国を代表する。
- ・ 定款に基づいた法的存在( living constitution )である。
- ・ 後継者育成策とともに強力なリーダーたちと理事会をもつ。
- ・ 適切な運営用資金をもつ。
- ・ 教育的な活動、楽しめる活動の両方をもつ。
- ・ ストラテジープランをもつ(戦略計画)。
- ・ 医療的協力体制をもつ。
- ・ 業界とのパートナーシップを確立する。
- ・ 良質な国際的ネットワーキングを維持する。

## 結果

- ・ 生存率／生活の質がより良くなる。
- ・ 専門性をもつ医療チームのアプローチが可能になる。
  - 専門家による治療へのアクセスが容易になる。
- ・ 安全で有効な治療へのアクセス
  - 在宅治療(ホームトリートメント)が可能、より良い身体的状況が望める。
- ・ 患者自身が自らの運命をコントロールしていく。
  - 患者たちは教育やトレーニングを受ける。

重度のヘモフィリアを抱えた人



## Treatment for All!



この人も重度のヘモフィリアを抱えている

ブエノスアイレスでお会いしましょう。  
2010年 7月10日—14日

