



国際血友病アドボカシー（政策提言）推進サミット 2012

2012年12月、Bayer HealthCare社（以下、バイエル）はHemophilia Advocacy Advisors Board（以下HAAB）と共同でアイルランドのダブリンで新たなグローバルサミット会議を開催しました。Hemophilia Solutionsプログラムとは、バイエルが血友病領域に対する貢献を目的として提供するものであり、HAABやサミットも、それらの一環です。HAABは、出血性疾患に関わる血友病コミュニティの最前線で活躍しているアドボケイト（患者の権利を代弁する人々）で構成され、アドボカシー活動の中で未解決の問題を特定し、アドボケイトや各国の患者会を勇気づけ、持続性のある最適な治療を受けられる環境が実現するための支援を目標としています。今回のサミットは、医療制度コンサルティング会社であるLewin Groupの協力により行われました。

1日半のサミットのコースに30人が参加し、内容豊富な発表を通じ、それぞれの経験および意見を自由に交換しました。また、集中的な分科会を行い、血友病の医療を進歩させるための有効なアドボカシー活動をどのように計画・実行するかについて、見解を共有しました。血友病は主に男性の疾患であるため、参加者の多くが男性でした。冒頭、現在および将来における血友病の世界的な情勢に関する全体像が示され、その後、経済面（成人の定期補充療法、新規治療法の利用などの論点を含む）、政府業務（国際、国内、地方レベル）、アドボカシーによってメッセージを伝えるための新たな手段（最新のソーシャル・メディアの活用、その発展的活用、政治家・報道機関に対する直接的な提言）が採り上げられました。本要約資料では、サミットでの主な知見を示します。

血友病について

血友病はまれな遺伝性出血性疾患であり、血液凝固第VIII因子（血友病A）または第IX因子（血友病B）の欠乏または欠損に起因します。World Federation of Hemophilia (WFH)が実施した年次調査によると、対象となった106カ国において、2010年に約163,000人が血友病AまたはBであると報告されています¹。しかし、把握されている有病率の不均衡を考慮すると、低所得国では患者数が過小評価されている可能性が高く、WFHでは、実際には全世界で約400,000人の血友病患者が生活していると推定しています²。

欠損した凝固因子は、ヒトの献血血漿から作られる血漿由来凝固因子製剤、または、人工的に製造された第VIIIおよび第IX因子遺伝子で作られる遺伝子組換え凝固因子製剤を用いて補充されなければなりません。なお、遺伝子組換え製剤は、血漿由来製剤よりも安全性が高いと広く捉えられています^{3,4}。血友病の治療法としては、凝固因子の出血時補充療法（出血が起きた際の投与）と定期補充療法（定期投与、予防的投与）があり、定期補充療法は一般的には2歳から開始して成長期の終わりまで続けられますが、成人後も継続する患者が増加しています⁵。

生涯にわたる定期補充療法では、関節の状態など良好な転帰が得られる可能性ははるかに高いと示唆する研究が相次いでいます^{6,7,8,9}。しかし、費用、アドヒアランス（確実な投与）など、他の条件も考慮することが重要です。

なぜアドボカシーなのか



有効なアドボカシーに 不可欠な条件

- ・ 献身的なリーダーシップ
- ・ 政策立案への積極的参加
- ・ 患者と医療提供者との強力なネットワーク
- ・ 豊富で確実な臨床的、疫学的、経済的データ
- ・ 粘り強さ
- ・ 戦略的かつ情報に基づく順応性

有意義な変化を実現するためにアドボカシーが不可欠な役割を果たすことは、過去 40 年間の血友病の歴史が証明しています。アドボカシーは、製剤の安全性、品質の向上、および標準的治療の改善に向けた世界的認識の形成、血友病診療技術の研修および開発の向上を支援するとともに、一部地域では、患者と研究開発機関との協力に寄与してきました。また、アドボカシーは、血友病患者と医療システムに要する経済的負担の軽減にも貢献しました^{10, 11}。1980 年代に発生した汚染血液事件では、HIV/AIDS および C 型肝炎の感染が蔓延しました。この問題に世間の関心を集めようとしたアドボカイトの不断の努力により、安全対策の改善、治療法の革新が進むなど、血友病患者の利益となる政策変化がもたらされました。しかし、それらの陰で、汚染血液事件は未だ多くの血友病患者や患者団体に影響を与え、一方、この事件への世間の記憶は薄れつつあります。さらに、医療制度は財政的制約の下で

医療の優先順位争いに直面し、世界の多くの地域において、医療制度は医療へのアクセス、供給、財政に影響する大きな改革に着手しています。このため、質の高い血友病治療に対する健康上および経済的課題が生じるに応じて、アドボカイトは政策的な対策の必要性を示し続けなければなりません。

このサミットには、変わりやすく不確実な経済環境で活動する、保健医療担当大臣や他の有力な政策立案者と交渉する、多様な地域・社会および政治的状況の下で新たなメディアの応用を考案するなど、経験豊かな参加者アドボカイトが集まりました。その結果、すべての参加者は新しく有益な情報を獲得し、のアドボカシー・ネットワークとのつながりを深めて帰国することとなりました。

多様な環境、共通の目標

サミットの参加者は、多様な国内環境において、様々な水準の財源、経験、科学的・政策的専門知識に基づき活動していることを認識していました。その上で、重症および合併症を持つ患者の治療を向上させるためには、科学の継続的な進歩が極めて重要であるという点で意見が一致しました。さらに、凝固因子製剤が入手可能か、入手しやすいか、手が届く値段かについては、容認しがたい大きな格差が国内、あるいは国家間に存在すること、また、治療の質、治療費、政治的および社会的環境の差があることを確認しました。協議を経て、サミットの参加者は、それぞれのアドボカシー活動において共通する次のような目標を挙げました。

- ・ これまでに達成された血友病治療の水準を維持する。
- ・ 汚染血液事件の被害を受けた患者のための行動を継続する。
- ・ 自らが血友病コミュニティにおいて頼られる代表となる。
- ・ 包括的で最適な血友病治療を利用しやすくする。
- ・ 個々の患者の治療および経過を最適なものとする。



- ・患者の身体的能力・社会的状況を含めて、生活の質を改善する。
- ・治療における選択肢の発展および改善に努める。
- ・臨床医、患者、家族、保険者の研修・教育の向上に努める。
- ・エビデンスベース（科学的根拠に基づく検討）を強化し、診療ガイドライン、品質基準、および保険政策へ情報を提供する。
- ・これまでに学んだ教訓が関係省庁の方針の中に維持・反映されていることを確認する。

政策立案環境の理解

アドボケイトは、地域や国内の医療システムと政策立案環境に関する知識を深め、応用しなければなりません。血友病治療を提供する医療システムは多様であり、単一保険者の一元管理による公的資金で賄われるシステムから、多くの公的あるいは民間保険者を組み合わせたシステムまでもが存在します。また、その継続性および医療の質は大きく異なります。大部分の先進諸国では、全国民を対象とする何らかの一元化した医療システムが採用されています。これには、新薬の販売を承認する規制システムに加えて、保障範囲を設定して医薬品製造業者と価格を交渉し、臨床医に対する払戻率を設定する保険者、患者の製剤や医療の利用に影響する意志決定者も含まれます。

有効なアドボカシーへの主なステップ

- ・関係を築く：重要な意志決定者との関係を築き、自らの組織を相手にも確実に知ってもらうようにする。
- ・優先すべきアドボカシーの課題を明確に設定する：問題を特定し、裏付けとなる証拠をそろえ、利害関係者とコミュニティが必要とするものを仕分ける。
- ・潜在的な協力者を特定し、確保する：課題に関わる機関または他の意志決定者をつかむ。解決案から利益を得るグループおよび個人を仕分け、選択する。
- ・メッセージを作成する：課題と解決案を記載した意見書を作る。
- ・事例を提示する：事実関係を把握し、具体的な質問と反論を予測する。
- ・持続する：関連する意志決定者に対し、適切な複数のメディアを用いて、事案への関心をつなぎとめる。
- ・進展する医学的、社会的、経済的、および政治的環境に注目し、必要に応じて対応する。

独立性 & 信頼性

アドボケイトは、アドボカシーの目標を達成するために、産業界の代表者を含めたすべての利害関係者との活動を求められる可能性がある。外部からの視線を意識して、信頼性および独立性を維持に努めることが重要である。



アドボカシーの必要性： 有効な治療法の保障

保険者は、成人の定期的補充療法などの有効な治療法について、下記のような疑問点を解決するエビデンスに基づく臨床ガイドラインがある場合、多くの情報に基づき、保障の範囲を定める。

- ・どのような患者（例：1年に1回出血する患者、1カ月に1回出血する患者）が定期的補充療法の対象となるか？
- ・どの投与計画を用いるべきか？
- ・関節の状態、出血頻度、心血管系疾患などの合併症に対し、定期的補充療法はどのように影響するか？

様々な関係者との戦略的な協力は不可欠です。提携の相手としては、患者および家族、保健医療および社会医療の専門家、政府および医療管理者、規制当局、製薬会社、産業界の代表者、国際的および地域的な非政府組織が挙げられます。しかし、他のグループとともに行動することは費用がかさむ、または実現困難と関係省庁の目に映る場合、単独のアプローチのほうが効果的な場合もあります。

主張を説明する

サミットの参加者は、自らが対象とする相手、とりわけ国および地方の政策立案者と新たな政策構想を検討するにあたっては、多くの競合する優先事項や予算の制限、時間的制約があることを認識していました。さらに、これらの政策立案者は多くの場合、新たなリソース（財源、物的・人的な資源）が必要なサービスの拡大に対し、エビデンス（科学的根拠）に基づく妥当性の説明を求めます。したがって、案件に現実性と信憑性を与えるためのアドボケイトの負担は増しています。特に、サミットの参加者は、患者の登録および他の資料データの示し方に

加えて、個人的な話の分析、有意義な疫学的、臨床的、経済的研究に資金を提供する血友病コミュニティの責任、ならびに医療への資金投入を支える知見の効果的な提示法について話し合いました。

多くの国では、血友病治療および関連治療の保障範囲について、医療技術評価（HTA）機関が主要な保険者に勧告を行っています。これらの機関では、費用対効果や予算への影響を分析し、有効性および安全性の観点からエビデンスを系統立てて評価しています。臨床試験および他の試験を経たエビデンスに基づき、特に専門誌に審査を通った論文が発表された場合は、HTA 機関にとって説得力を持つ知見となり、最適な血友病治療につながる理論が強化されます。このため、サミットの参加者は、自国内の主要な保険者がどのように保障範囲を定めているか、HTA 機関または他のエビデンスに基づく医療グループによる保険者へのアドバイスの有無、それらの機関がどのような臨床的・経済的エビデンスを求めているか、必要に応じて、保障範囲の拡大に向けた理論の強化を目指し、そのためのエビデンスがどのように組み立てられ、作成されるかを把握する必要性を確認しました。

マルチメディア・コミュニケーション

明確な目標および具体的目的を定め、関連する政策環境および中枢の政策立案者に完全な理解や変化を与える主張を示す材料を得たならば、アドボケイトは、目の前にある課題のために適切なコミュニケーション・メディアを活用することが求められます。サミットの参加者は、プレゼンテーション、事例研



究、分科会を通じて、独創的かつ目的にかなったメディアの活用に関する理解と教訓を共有しました。デジタル・アドボカシーに用いられるメディアとしては、優れたウェブサイトをはじめとして、ウィキペディア、電子メール、ショート・メッセージ・サービス（SMS）、メーリング・リスト、あるいは、Facebook、Twitter、YouTube、LinkedIn、ブログなどのソーシャル・メディア、インフォ・グラフィック（複雑な情報を明瞭かつ素早く伝達するための描画）が利用されます。それぞれのメディアは、予算的制限、メディアが限られる地域など、様々な制約を受ける場合に役立つ特性を持っています。

使用するメディアに関わらず、血友病アドボカシーのために良好なコミュニケーションを形成する適切なステップは次のとおりです。

- ・ 持続的で融通性がある複数のコミュニケーション戦略
- ・ コミュニケーション基盤の整備に必要な予算、専門知識、および時間
- ・ 対象グループ（例：一般市民、保健医療官庁）が参加しやすいようにメッセージを調整し、簡略にする。
- ・ 意思決定者に届け、影響を及ぼすために総合的な通信手段を利用する。
- ・ 多様な対象グループに届けるため、異なる特性を活用して複数のメディアを用いる。
- ・ 複雑な情報を理解しやすい形式で送る（例：インフォ・グラフィック）。
- ・ 対象グループが参加しやすいように適切なツールを提供する（例：ソーシャル・メディア）。
- ・ 対象グループに情報を伝える様々なメディアの有効性および経費を見守る。適切に調整する。
- ・ 重要な課題、データ、話題を提供し、また、更新するための情報収集を継続する。

課題：血友病患者に限らない問題点

血友病患者および家族にとって最も重要な問題点のうち、他の患者グループにも共通の事項

- ・ 輸血用血液の安全性
- ・ 多くの稀少疾患に見られる課題
- ・ 高額な自己負担および患者・家族にとって莫大な高額医療費
- ・ 医療費給付の縮小
- ・ 血友病症例の約 30%に見られるとされる突然変異の発生

国会や地方議会の議員をはじめとする政策立案者、担当大臣、有力なジャーナリスト、新聞記者に電子メールを送ることで大きな成功をおさめたプログラムもあります。個人情報の使い方は、ソーシャル・メディアによって変化しました。タブレットPCとスマートフォンが、デスクトップPCに移りつつあります。社会に向けた情報のオンライン配信は、ビラの地位を奪いました。振込みや小切手に代わり、電子商取引システムの利用が増えています。

血友病に関わる人々は、多様なソーシャル・メディアを利用します。専門家、評論家、テレビ・ラジオ、



出版社、通信社は、様々な方法で血友病に関する情報を発信します。ソーシャル・メディアにより、個人の作成したコンテンツを一般人が利用する機会が増え、その信頼度も増しました。

Facebook への写真の掲載、最新情報を届ける Twitter への書き込みをはじめ、アドボカシーの実行中にソーシャル・メディアをリアルタイムに活用することは、報道機関や一般市民の関心を集める上で非常に有効です。限りのあるアドボカシー・プログラムでは、大量の情報をどのように伝達するか、困難な選択に迫られることがあります。その際にはオリジナルの情報資料を作成する代わりに、の他国語による既成の情報資料を自国語に翻訳している例もあります。

有力な政策立案者との交渉

サミットにおいて、参加者は、政府による保険扱いおよび治療施設に対する財政支援の削減など、血友病アドボカシーの重要な論点について、政府との交渉および記者会見の模擬演習を行いました。保健医療担当大臣または他の有力な政策立案者との交渉にあたり、参加者は次のことを学習しました。

- 交渉の前に、政策立案者の立ち位置および重要な利害関係者の役割を知っておく。適切に交渉の内容を調整する。
- 具体的な政策または決定に対して、明瞭かつ実行可能な要求項目を作成し、要請する。
- 簡潔で適切な背景資料および追加質問のため、要旨をまとめた文書を持参する。連絡先の情報も含めておく。
- 財政上の責任および有効なリソース活用の必要性を認識する。
- 協力の必要と同意可能な解決策を強調する。
- 政策立案者がアドボカシーグループと連携し、それにより市民からの評価を得るように勧める。
- 血友病専門医・研究者が交渉に同行することにより、信頼性が高まるとともに、必要に応じて医学的／技術的支援の提供が可能となる。
- 事前にプレゼンテーションを繰り返し練習する。
- 記録を取り、交渉の議事録を作成し、公式な記録として政策立案者側と共有する。

記者会見および報道機関とのイベント

記者会見または他の報道機関とのイベントにあたっては、下記の事項に留意する。

- はじめに、血友病コミュニティのために明確に定められたアドボカシー活動の目標を提示する。
- ニュースの見出しに簡単に応用でき、印象的で覚えやすい事実を焦点を当てた明瞭なメッセージを考案し、発表する。
- メッセージにちなんだ活動事項を、簡潔で覚えやすい言葉によって明確に述べる。
- それぞれのメッセージに人間的な興味を盛り込む。患者を巻き込み、その物語を工夫し、提示する。
- メッセージを伝えるための助けとなる見やすく、シンプルな視覚的資料を用意する。
- イベント前に、メッセージのポイントおよび視覚資料の抜粋を報道機関に配布し、マスコミの理解と利用を容易にする。
- 追加質問のために連絡先の情報を提供する。



卷末注

- ¹ Report on the Annual Global Survey 2010. Montreal, Quebec: World Federation of Hemophilia, December 2011.
- ² World Federation of Hemophilia. About bleeding disorders. Accessed May 2013. Available at: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?psd-642>.
- ³ Hermans C, Broekmann HH, Schriep P, Auerwald G. The case for wider use of recombinant factor VIII concentrates. *Crit Rev Oncol Hematol*. 2012;58(3):111-20.
- ⁴ Coppola A, Capua M, Simone C. Primary prophylaxis in children with haemophilia. *Blood Transfus* 2008;8(suppl 2):s4-s11.
- ⁵ Alsdorf LM, Haszlmeyer RH, Petersson H. A longitudinal study of orthopaedic outcomes for severe factor-VIII-deficient haemophiliacs: The Orthopaedic Outcome Study Group. *J Intern Med*. 1994;235(6):391-9.
- ⁶ Bertorp E, Boujenkov V, Brentel D, et al. Modern treatment of haemophilia. *Bull World Health Organ*. 1995;73:691-701.
- ⁷ Manco-Johnson ML, Abshire TC, Shapiro AD, et al. Prophylaxis versus episodic treatment to prevent joint disease in boys with severe hemophilia. *N Engl J Med* 2007;357:536-44.
- ⁸ Manco-Johnson ML, Kempton CL, Filding MJ, et al. Randomized, controlled, parallel-group trial of routine prophylaxis vs. on-demand treatment with liposome-formulated recombinant factor VIII in adults with severe hemophilia A. *Journal of Thrombosis and Haemostasis* 2013;11(11):1911-1927.
- ⁹ P.L. 105-389. The Rocky Ray Hemophilia Relief Fund Act of 1988.
- ¹⁰ World Federation of Hemophilia. Changing tactics and persevering: Hemophilia Federation of the Republic of Mexico wins Advocacy in Action Award. Hemophilia World December 2012. Accessed May 2013. Available at: <http://www.wfh.org/en/our-work/advocacy-in-action-award-article-dec2012>.