

パルフェ

Parfait



血友病治療には進歩の節目がありました。補充療法の遅れが治療を長引かせ、関節の後遺症をもたらすということは、家庭療法が始まる前から分かっています。しかし、高度濃縮製剤の出現以前は、輸注容量が大きいために静脈注射ではなく点滴での投与が必要なことから、通院にての点滴投与を余儀なくされてきました。ところが、高度濃縮凝固因子の時代になると、輸注容量が少なくてすむことから、点滴ではなく静脈注射が可能となりました。また、それ以前の血液製剤に比べはるかに純度が高いために、アレルギー反応の懸念もほとんどなくなりました。

このような利便性や安全性の向上が、家庭療法への扉を大きく開きました。承認前から一部では試みられ

てはいたものの、日本では1983年に正式に家庭療法が認められました。当時は、今となっては考えにくい不安が医療者側にも患者側にもありました。出血が起こってから早期の凝固因子補充が出血の重症化や後遺症の軽減に役立つことは理解できるものの、静脈注射という医療行為を患者やその家族に委ねて問題はないのかということです。そこで、医療者・患者間のいくつかの約束事が設定されました(図表1)。そのも

とで、瞬く間に普及していった家庭療法の恩恵は広く皆さんの知るところであり、血友病患者の日常生活は新たな挑戦が可能な時代となりました。

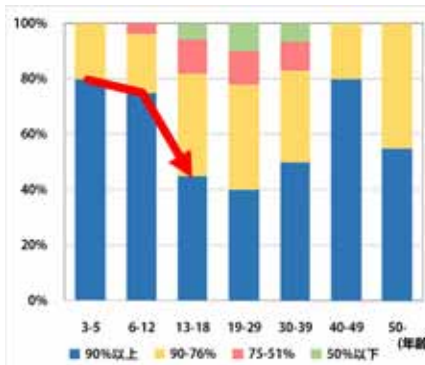
血友病治療はコンコーダンスの時代へ —さらなる輸注記録表の役割—

西田恭治

国立病院機構 大阪医療センター 感染症内科

1980年代以前は、凝固因子製剤を介したウイルス感染が多くの血友病患者に大きな災いをもたらしました。しかし、1990年代以降は遺伝子組換え製剤の参入もあり、高度なウイルス不活化処理をなされた血漿由来製剤とともに、安全な充分量の製剤が安定供給されるようになり、従来からの出血後早期止血という目標に代わり、未然に出血を防ぐほうが好結果をもたらすのではないかという考え方が出てきました。また、それを裏打ちするごとく、そのような治療方法は関節障害を抑制するという研究結果も続出し、出血させないことを目標に定めた定期補充療法が普及していきました。

定期輸注の投与量や投与間隔は、あらかじめ医療者・患者間で設定されます。それは、患者側の最小の負担(主に輸注頻度の減少)で最大の効果(主に出血頻度の低下)をもたらすように定められます。その投与量・間隔が守られているか否かは、アドヒアランス(adherence: 順守)が良い、悪い」と表現されます。一般的には、10代後半から20代前半の若者でアドヒアランスが悪くなるようです(図表2)。その結果として、出血頻度が増えてしまうということがあります。医療者目線から見た「悪いアドヒアランス」の原因は、そもそも最初の投与量・間隔設定に無理があったのではないか、あるいは当初



【図表1】

- 忘れず、きちんと守りましょう**
- ① 定期的(最低3か月毎)に受診すること
 - ② 家庭治療に関して主治医の評価と指導を受けること
 - ③ 治療経過や製剤の家庭内在庫状況を記録し、病院に定期的に提出すること
 - ④ 製剤は規定の方法で管理し、奨められた輸注量、輸注方法を守ること
 - ⑤ 製剤は、兄弟を含む患者の間で流用しないこと
 - ⑥ 針や注射器などの医療廃棄物を適切に処理すること
 - ⑦ 出血症状が強いつきや判断に迷うときには主治医に連絡すること

【図表2】

篠澤圭子

東京医科大学 血液凝固異常症遺伝子研究寄附講座



保因者の検査について知っておいて欲しい大切なこと — 血友病とともに生きる女性 —

血友病はX連鎖劣性遺伝なので、一般的に出血症状がある患者さんは男性です。血友病の止血治療は定期補充療法をベースにして、長時間作用型遺伝子組み換え型製剤の登場、遺伝子治療や細胞幹細胞治療など、分子生物学的技術を駆使した治療法の開発が、近年、飛躍的に進展してきています。年長の世代の方達は、走ったり、泳いだり、スポーツをしている若い世代の患者さん達の姿に、新鮮な驚きと期待を持って見守られているのではないかと推測しています。さらに、これからの止血治療は、個別化医療と言われるように、個人それぞれの治療計画に基づいた「出血ゼロ」の時代へと向かっていくように思っております。

私は、血友病をはじめとする先天性血液凝固異常症の凝固因子などの遺伝子解析や遺伝子組み換え変異体発現実験などを中心に、基礎研究を続けてきました。約15年前、普通の病院の検査では御自身とその子供達の遺伝子解析ができないことを知った地方在住の患者さんからの一本の電話が、私自身の大きな契機となって、血友病の保因者診断の検査システムの構築に携わるようになりました。

これまでに、保因者診断のインフォームドコンセントや面談時に、真剣な眼差しで話を聞きに来られた患者さんのお母さんやお姉さんなどの女性の方達にたくさん出会ってきました。患者さんの家族の女性の方達が、各自それぞれの立場で抱えている「遺伝」の様々な問題に対して、真摯に考えられている姿を目のあたりにしてきました。

出血の痛みや苦しさに直面しているのは男性である患者さん自身ですが、その傍には、息子が血友病になったのは自分の責任だと自責の念にかられているお母さん、自分の息子のお姉ちゃんが保因者なのかどうか心配でたまらないお母さん、婚約者や家族と一緒に面談に来て保因者かどうかをはっきりさせてから結婚したいと言っていた若い女性など、多くの悩まれている女性達がいました。その度に、私の心の中に「血友病は本当は女性が主役の病気だ」という言葉が湧き上がってきました。このような理由から、『血友病とともに生きる女性』のために、皆さんに保因者についての基礎知識を知ってもらいたいという想いで、『保因者の検査について知っておいてほしい大切なこと』を寄稿させて頂きます。