

# Haemophilia 日本語版

## Vol. 5 No. 1 の編集に当たって



担当編集委員

**高松 純樹**

名古屋大学輸血部

2003年7月に英国のバーミンガムで開催された第19回国際血栓止血学会の教育講演において、ミラノ大学（イタリア）の Mannucci 教授は「21世紀の血友病治療選択」という以下のような講演において、21世紀における治療法の概説を行った。

「1970年代に導入された本格的な補充療法は患者を死の危険から解放し、さらに定期補充療法（予防投与療法）が一般的に普及したことにより、身体的な障害からの解放ももたらした。しかしながら、大量にプールされたヒト血漿から精製された濃縮製剤により HIVをはじめとするウイルス感染が発生し、欧米では約60～80%の血友病患者が HIVに感染した（我が国においても約40%の患者が感染した。編集委員註）。その後の嚴重なドナー選択、検査の導入、ウイルス不活化技術の導入、基礎・臨床研究、そしてリコンビナント製剤の開発によりこれらの問題はほぼ解決され、21世紀には今まで以上に安全な製剤と遺伝子治療を目標とするべきである」と結んだ。

これと関連して、本号では遺伝子治療の倫理的側面についての総説を選択した。本文の中において引用されている米国マサチューセッツ工科大学の Charles Weiner 博士の「何かが“必然”である（ここでは血友病患者に対する遺伝子治療をさす）という独断的考えは受動性と盲従を助長する。一方、この考えは研究者が研究を進める上で、研究に対する世論から研究者を遮断し、結果として有意義で活発な公的議論を抑制してしまう。議題は既にテーブルの上であり、活発な公的議論と、その議論への社会全体の参加を要求している」は極めて重要な指摘であり、今後の遺伝子治療を考える上でぜひ考慮しなければならない点である。患者の利益は本当に確保されるのであろうか。遺伝子治療が持つ、避けて通れない問題はあるのか、あるとすればそれらはどのように解決され得るのか。そして患者あるいはその家族は本当に遺伝子治療を望んでいるのか。また、遺伝子治療に要するコストはどうか。これらに対する解答は未だ得られていないし、これらの解答が今後容易に導き出されるとは考えがたく、患者そしてその家族をはじめとする広範な人々の真剣な議論が求められるところである。

安全な凝固因子製剤あるいは遺伝子治療の恩恵に浴する、あるいは浴する可能性があるのは、

現時点では世界の血友病患者の20%弱であり、大部分の患者は血友病と診断されることなく日々を送り、出血死している。世界血友病連合（WFH）では全世界を対象とした血友病センター施設提携プログラムを策定し、血友病医療の向上を目指している。特に発展途上国への人的・物的援助のみならず、次世代を担う医療従事者の教育も重要な点である。我が国の施設では一施設もこのプログラムに参加しておらず、世界への貢献という点では他の先進国に後れをとっていることは誠に残念である。前述したように血漿由来製剤の安全性は、現時点ではヒト由来の血液を使用していないリコンビナント製剤に匹敵すると言っても決して過言ではない。しかし、過去の血液製剤の悪夢はいつまでも続いており、一時的な変動はあったものの、リコンビナント製剤がより多く使用されている。だからといって、国内における製剤を全てリコンビナント製剤にするのは大変危険である。リコンビナント製剤の欠品が全く起こらないという保証はなく、我が国における血漿製剤の技術も一旦失われれば、その回復はそう容易ではないことから、リコンビナント製剤と血漿由来製剤の適切な比率での使用は今後も必要である。現時点では実体としては相対的ではあるが、国内の献血ドナー血漿を原料として製造された製剤は少し余裕がある状態となっているので、我が国では国の方針として血液製剤の外国への輸出が禁止されているものの、国際協力の一環として国内で製造された製剤を発展途上国に援助として無償提供することも必要ではないだろうか。これは第一番目のアブストラクトとして本誌に掲載した論文を参照していただければわかっていたことであるが、世界でわずかに十数カ国が十分な血友病治療を行っているにすぎず、このようなデータからも援助が必要とされていることは明らかである。

第3の全翻訳論文として、欧州で開催されている血友病治療ワークショップの報告を選んだ。血友病治療における大きな課題であるインヒビター治療についての論議が中心に述べられているが、免疫寛容療法の先達者である欧州の状況は我が国におけるインヒビター治療にも参考になるものと思われる。

我が国の輸血に関する取り組みが大きく変わろうとしている。2003年7月に施行された血液新法では製造者である日本赤十字社、あるいは各メーカーの責任のみならず、使用する医師をはじめとする医療従事者の責務さらには監督官庁である国、各都道府県の責任も明確にされ、安全で適正な輸血医療を推進することがますます求められてきている。輸血の安全性については絶対ということは原理的にはあり得ない。したがって、その対策は一つ一つ現在ある問題を解決していくこと以外に道はない。輸血はどこでも安易に行われるべき治療法ではなく、きちんとした責任医師の存在下で行われるべき医療であるという認識から、輸血責任医師制度の確立と経済的な保証が求められる。具体的な問題として、日本赤十字社においては細菌感染に対する白血球除去やさらには病原体不活化の導入、不適合輸血を防ぐための採血から投与までの全てのプロセスにおいて人為的ミスを防ぐための輸血医療機関でのコンピューターシステムの導入を緊急の課題としなければならない。