

Haemophilia 日本語版 Vol. 4 No. 3 の編集に当たって



担当編集委員

白幡 聡

産業医科大学小児科学教室

本年7月に英国の Birmingham おきまして第19回国際血栓止血学会が開催されました。

Birmingham や London は、8年ぶりの猛暑とかで連日、最高気温が30℃に達していましたが、学会場でもホットな discussion が繰り広げられていました。血友病については、Mannucci 教授の「21世紀における血友病治療のオプション」と題する講演の中で、現在のところは遺伝子組換え製剤の供給が十分とは言えないのでその使用はある程度制限されるが、今後、生産量が増えれば、先進国においては遺伝子組換え製剤の血漿由来製剤に対する使用比率はどんどん増えていくであろうと述べていました。また、今後の遺伝子組換え製剤の改良の方向性として、(1) 遺伝子を組み込まれた動物細胞の第VIII (IX) 因子発現効率を高める (2) specific activity の高い第VIII (IX) 因子を発現させる (3) 活性化プロテインCに対し抵抗性のある変異型第VIII因子を発現させる (4) 半減期の長い変異型第VIII (IX) 因子を発現させる (5) 免疫原性を低下させてインヒビターができにくくする (6) インヒビターで中和されない製剤を作る等のアイデアが示されました。実際にヒトの第VIII因子のA2, A3, C2ドメインに存在する、免疫原性のあるエピトープの一部をブタの分子に置換したハイブリッド第VIII因子製剤が開発されているとのことでした。

一方、血友病の遺伝子治療については、生殖細胞への外来遺伝子の挿入が問題となっています。また、レトロウイルスベクターを用いた遺伝子治療を受けた重症免疫不全の患者さんがT細胞白血病に罹患したため、遺伝子治療との関連について慎重な検討が行われています。という訳で、ヒトでの臨床研究は少し足踏み状態になっているという印象でしたが、動物実験レベルでの基礎研究は着実に進行していました。本学会での1つの大きなトピックは、2011年の国際血栓止血学会の開催地に日本(京都)が選ばれたということでしょう。まだ、だいぶ先のこととは言え、学会の成功に向けて準備が始まりました。

さて、7月30日に「安全な血液製剤の安定供給の確保に関する法律」(いわゆる血液新法)が施行されました。それまでの法律では、被採血者の保護と採血業の規制が主眼で、血液事業の

特性を踏まえた法的枠組みとなっておりませんでした。採血事業の面をとっても、有料採血が可能であるとか、採血事業者の責務が不明確で、事業の透明性を確保する制度がない、献血者の個人情報の保護が不十分などの問題点がありました。そこで血液新法では、法律の目的を拡大し、血液製剤の安全性の向上、安定供給の確保、適正使用の推進を新たに追加しました。そして、基本理念として ① 血液製剤の安全性の向上 ② 献血による国内自給の原則 ③ 適正使用の推進 ④ 血液事業運営に係る公正の確保と透明性の向上を掲げ、国、地方公共団体、採血事業者、製造・輸入業者等、医療関係者の責務をそれぞれ明確化しました。血液新法の成立に伴い、薬事法も今般改正され、ヒトその他の生物に由来するものを原料または材料として製造された医薬品のうち、特に保健衛生上の注意を必要とするものをさらに2段階に分けて、生物由来製品と特定生物由来製品として指定し、通常の医薬品よりも厳しい基準を課しています。また、原料となった血液の採血国、献血・非献血の区別を容器あるいは包装する箱に表示することが義務付けられました。

本号では3編の論文をフル翻訳しました。1つ目は英国で作成された、血友病を含む遺伝性出血性疾患の治療薬の選択と用法についてのガイドラインです。この中には日本では市販されていない製剤も含まれていますが、— 英国では第VIII因子製剤だけでも遺伝子組換え製剤が3種類、血漿由来製剤が8種類発売されているのには、驚かされます — わが国で血液製剤を選択し、それを使用するにあたって、大変参考になる論文です。

2つ目はリファンピシンとヒアルロン酸による化学的滑膜浄化術を血友病の小児に実施した経験をまとめた短いレポートです。わが国でも10歳前後で血友病性関節症に罹患している場合が少なくありませんが、今後は関節症の発症を予防することが重要でしょう。

3つ目は、予防投与療法における未解決の問題を論じた総論です。本稿は、2002年4月にローマで開かれた円卓会議の内容をまとめたもので、予防投与の至適開始時期から始まり、その用量、評価方法 (MRI, physical diagnostic score, QOL, 費用対効果)、静脈カテーテル使用時の合併症、インヒビター保有患者への適応まで、予防投与療法に関わる諸問題が幅広く論じられています。

以上3編の全翻訳に加え、12編の論文の抄録を掲載したため、通常よりもボリュームが多くなっていますが、いずれも血友病の実地臨床に役立つ興味深い論文と考え、収載させていただきました。