

Haemophilia 日本語版

Vol. 5 No. 2 の編集に当たって



担当編集委員
花房 秀次
荻窪病院血液科

日本血栓止血学会は専門領域における診断・治療法の開発・標準化に関する学術的研究を行い、得られた最新知識と学術情報を会員のみならず、広く医療関係者および一般国民に提供することを目的として学術専門委員会を設置しました。血友病に関しては東京医大の新井盛夫助教授を委員長として血友病標準化検討部会が発足しました。

血友病標準化検討部会の活動目的は、

1. 血友病専門医の医療連携の確立
2. 凝固因子製剤の力価の標準化
3. 血友病の治療指針の作成
4. 家庭療法の基準の作成
5. 血友病医療における危機管理
などです。

本号には、第 VIII 因子、および第 IX 因子定量法の標準化に関する報告が掲載されています。製剤に含まれる因子を正確に測定することは大変重要で、そのためには凝固因子の正確な定量法の標準化、標準サンプルの設定などが必要です。

血友病治療において最も重要な要素の一つである補充療法も現段階では世界中で統一されていません。過去の血友病医療においては安全な濃縮製剤を大量に必要とする科学的な検討は困難でした。そのため、補充療法は血友病専門医の経験的治療に基づいて決定されており、国や施設によって投与方法が異なっています。今後の検討により補充療法における投与量・投与期間なども標準化される必要があると思います。

血友病標準化検討部会は2003年に血友病在宅自己注射療法基本ガイドラインを作成し、家庭療法を認める基準を示しました。また、血友病家庭療法の再評価と保険適応外治療の方向性を議論し血栓止血学会誌に報告しています。

過去にはコージネイトの供給停止により、我が国の凝固因子製剤が不足しそうな危機に見舞われました。その後、2003年7月に「安全な血液製剤の安定供給の確保に関する法律」が制定され、我が国における凝固因子製剤の安定供給は国が責任を持って管理するようになりました。しかし、我が国には遺伝子組換え製剤を製造する企業はなく、今後遺伝子組換え製剤の製造方法がさらに改良されて安全性が高まり、需要と供給が増すと海外企業への依存が高くなり、海外での生産に支障が生じた場合に自国だけでは危機対応が不可能となるかもしれません。同様のことは我が国の日赤にも当てはまり、日赤の生産に支障が生じた場合は海外企業に頼らねばなりません。今後の製剤の適切な使用割合、製剤の選択、製薬企業同士の連携、我が国の対応などを血友病医療に関わる医師と患者さんたち、行政、メーカーなどと協議していくことが必要と思われます。

また、本号では特にインヒビター治療に関する部分を多めに取り上げました。インヒビター治療は血友病医療における最も困難な問題の一つです。APCC製剤やrFVIIa製剤の登場により治療は進歩していますが未だ十分ではなく、一方では医療費の高騰も深刻な問題になっています。今回は急性期や重度出血の止血管理、手術時の止血管理や頭蓋内出血などの重篤な出血症状などに対するAPCC製剤やrFVIIa製剤の有効性に関する多くの報告がまとめられています。インヒビター患者の手術における有効性については、APCC製剤で約90%、rFVIIa製剤で60～100%、PCCについては有効性が認められなかったと報告されています。

rFVIIa製剤の投与方法もワンショット投与がよいのか持続投与がよいのかも課題です。本号では双方の有効性を報告した論文が紹介されていますが、メーカー側は持続投与を推奨しておらず、rFVIIa製剤については通常使用量の3倍を一度に投与することで強固な血栓を作った方が効果的だと考えているようです。今後、rFVIIa製剤の高用量1回投与の有効性が検討される予定です。

最近、重症血友病患者に対して定期補充療法が検討されていますが、効果と経済的問題を比較したところ、高用量よりも中間用量の方がよい結果が掲載されています。スウェーデンの定期補充療法では関節障害が少なくなり仕事も休まなくなるなどの利点がありますが、製剤投与にかかる費用が増加するなど経済的にも検討する必要があると思われます。免疫寛容療法の導入時の投与量などについても検討されていますが、免疫寛容療法で用いられる中心静脈カテーテル関連の合併症は、2.7歳以上になると感染症の合併が少なくなるようです。

ワクチン接種についても参考にしていただければと思います。血友病患者は出血傾向のため、皮下注射が推奨されます。A型・B型肝炎ワクチンの接種、HIV感染者に対するインフルエンザワクチン接種が勧められています。

論文の信頼性を評価するとき最も重要な点は調査方法が科学的に信頼できるかどうかです。調査におけるサンプルの抽出が無作為かどうか、prospective studyかretrospective studyか、統計的に信頼できる人数か、調査期間は十分かなどを考慮しないとバイアスの多いデータを誤解してしまう危険性があります。それらを十分に注意した上で紹介された論文の信頼度を考慮していただければと思います。