

Abstract

重症血友病に対する定期補充療法：臨床的，経済的諸問題

Prophylaxis for severe haemophilia: clinical and economical issues

K. Fischer and M. van den Berg

重症血友病患者は，出血時にのみ治療を行う出血時補充療法か，事前に出血を予防するために行う定期補充療法（予防投与療法）によって治療される。しかし，定期補充療法にはコストの問題とウイルスに対する安全性の問題が伴い，この2つの問題により普及が妨げられている。今回我々は，成人患者における種々の治療戦略の結果と治療コストを比較する目的で，重症血友病患者3群（1970～1980年生まれ）で検討した。

フランス人患者106例には出血時補充療法を行い，オランダ人患者49例には中間用量を用いた定期補充療法を，スウェーデン人患者24例には高用量を用いた定期補充療法を行った。結果の比較には年間の関節内出血発生件数およびPetterssonのX線写真スコアを用い，治療コストの比較には年間の凝固因子製剤消費量を用いた。

定期補充療法は出血および血友病性関節症の発生を良好に抑制した。すなわち，出血時補充療法群では年間の関節内出血発生件数の中央値が11.5件/

年，Petterssonスコアの中央値が16ポイントであったのに対して，中間用量を用いた定期補充療法群ではそれぞれ2.8件/年，7ポイント，高用量を用いた定期補充療法群では0.5件/年でPetterssonスコアは4ポイントであった。また，定期補充療法を行った2群間のPetterssonスコアを除いては，3群間の差はすべて統計学的に有意であった。一方，治療コストの増大が認められたのは高用量を用いた定期補充療法を行った場合のみであった。出血時補充療法での凝固因子製剤の平均消費量は1,612 IU/kg/年で，中間用量を用いた定期補充療法では1,488 IU/kg/年であったが，高用量を用いた定期補充療法では4,012 IU/kg/年であった。

若年成人の場合，中間用量を用いた定期補充療法と出血時補充療法との間にコスト面での差はみられない一方で，結果は前者でより良好である。一方，高用量を用いた定期補充療法ではコストが中間用量を用いた場合の2倍であるが，高用量を用いることにより得られる改善はごくわずかである。

	On demand <i>n</i> = 106	Prophylaxis	
		Interm. dose <i>n</i> = 49	High dose <i>n</i> = 24
Joint bleeds/year (<i>n</i>)	11.5 (3.8–24.0)	2.8 (0–7.8)	0.5 (0.2–1.8)
Clinical score (max. 90)	8.0 (3.3–14.0)	2.0 (0.3–5.0)	0 (0–1.0)
Pettersson score (max. 78)	16 (8–28)	7 (3–15)	4 (0–15)
Pettersson = 0 (%)	2%	14%	46%

Values are medians (interquartile ranges).

Table 2. Outcome according to treatment strategy.