

Abstract

ノルウェーおよびスウェーデンの重症血友病患者を対象とした出血時補充療法と定期補充療法との比較：特徴と有効性の違い

On-demand vs. prophylactic treatment for severe haemophilia in Norway and Sweden: differences in treatment characteristics and outcome

K. Steen Carlsson, S. Højgård, A. Glomstein, S. Lethagen, S. Schulman, L. Tengborn, A. Lindgren, E. Berntorp and B. Lindgren

今回我々は、ノルウェーおよびスウェーデンにおいて出血時補充療法または定期補充療法（予防投与療法）を過去11年間受けた重症血友病患者156例を対象に、両治療群における11年間の治療歴、日常生活歴を調査し、各治療群において費やされた様々な医療資源（凝固因子製剤、入院、救急施設、外科手術、リハビリテーション施設、在宅医療サービス、装具など）および人的資源（労働生産性への影響など）を比較した。歴史的にノルウェーでは出血時補充療法が標準治療となってきた一方で、スウェーデンでは定期補充療法が標準治療となってきた。したがって、156例のうち、出血時補充療法群はノルウェーの61例であり、定期補充療法群はスウェーデンの95例である。結果として、出血時補充療法群では手術施行件数が多く（関節固定術、人工関節置換術および滑膜切除術）、欠勤日数も多かった。一方、成人（18歳以上）における凝固因子製剤の年間消費量（中央値）は、定期補充療法を受けている患者で1人当たり211,000 IU [四分位偏差 (IQR) : 154,000 ~ 268,000] または 3,024 IU/kg であったのに対して、出血時補充療法を受けた患者では55,000 IU (IQR : 28,000 ~ 91,000) または 780 IU/kg であった。この結果は、定期補充療法を受けていた患者における体重1 kg当たりの投与量（中央値）は出血時補充療法を受けていた患者の2倍であったことにより部分的に説明可能である [定期補充療法 28 IU (IQR : 24 ~ 32), 出血時補充療法 14 IU (IQR : 12 ~ 16)]。いずれの治療群においても、体重1 kg当たりの投与量は、患者1人当たりの年間の凝固因子製剤消費量と関連する重要因

子であった。このほか、回帰分析では、出血時補充療法を受けている患者が二次定期補充療法を受けた週数もパラメーターとして含め、さらに定期補充療法群には18歳未満の患者も含まれていたため、これらの患者では年齢と体重、血友病の病型も考慮した。両治療戦略の間には一貫して著明な差が認められ、両治療戦略の費用対効果に今後大きな影響を与えるであろう。

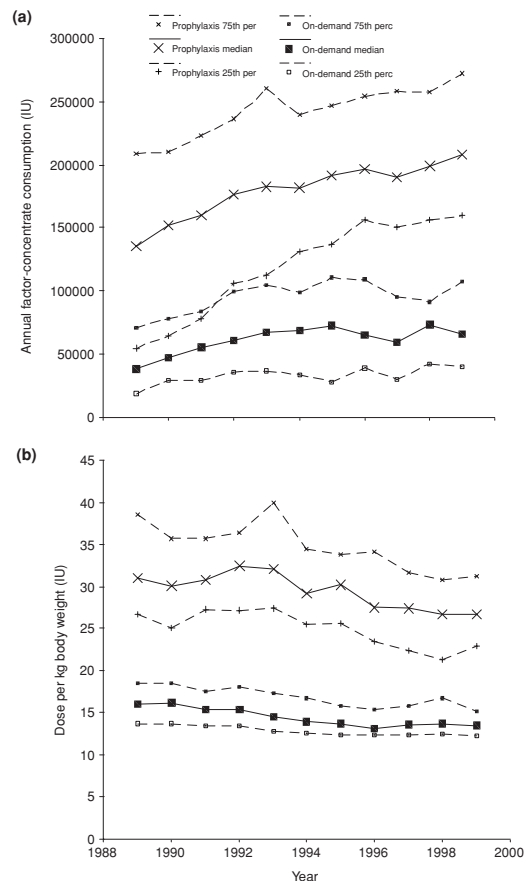


Fig. 2. (a) Annual total factor-concentrate consumption for all individuals. (b) Dose per kilogram body weight in the pooled sample.