

Abstract

二次定期補充療法：利益と限界，そして不明点

Secondary prophylaxis therapy: what are the benefits, limitations and unknowns?

L. A. Valentino

重症血友病 A の管理には定期補充療法（予防投与療法）が広く推奨されているが、現時点におけるこの治療法の導入状況は国によってまちまちである。特に、米国においてこの治療法が採用されているのは重症症例の半数にも満たない。この事実は、二次定期補充療法という形式で治療が行われた場合に限り、多くの重症血友病 A 症例が利益を得ることができる可能性を示唆しているのかもしれない。二次定期補充療法は、一次定期補充療法ほどこれまでに十分に検討されてこなかったが、その効果と限界について評価するに十分なデータが既に報告されている。今回我々は、① 早期（乳幼児期）に開始する二次定期補充療法、② 後期（小学校入学後あるいはそれ以降）に開始する二次定期補充療法、③ 成人に対する二次定期補充療法、という 3 つの観点から二次定期補充療法を検討した。早期二次定期補充療法を受けた患者を対象にスウェーデン、オランダ、英国、米国で行われた研究では、この治療法により出血頻度および血友病性関節症の発生頻度が減少することが証明され、救急外来の使用および入院頻度の減少も認められている。しかし、二次定期補充療法では一

次定期補充療法に比べて最終的に血友病性関節症の発生リスクが増大していた。小学校に入学するまで、思春期に達するまで、あるいは出血時投与療法下で出血が頻発するようになった後に二次定期補充療法を開始した場合は、この治療法ではそれまでに発生した、あるいは進行中の関節障害を回復させることができないと考えられた。しかしながら、この治療法は血友病性関節症の悪化を遅延させ、出血、入院、学校欠席日数を減少させ、身体機能や自活能を向上させるとともに、疼痛を軽減し、生活の質を高めることが多くの研究で示されている。成人における二次定期補充療法は、出血頻度を減少させるうえで有効であることが示された。二次定期補充療法を受けている成人では、関節の状態が改善し、機能性、生活の質が向上し、疼痛も軽減する。開始時の年齢とは無関係に、二次定期補充療法の長期実施は、二次定期補充療法開始後早期に出血傾向が続き標的関節のある患者においてさえ、出血頻度を減少させると考えられた。このように、二次定期補充療法はかなりの数の重症血友病 A 患者に利益をもたらす可能性があることを考慮すると、一次定期補充療法を受けていない患者に対しても二次定期補充療法を治療選択肢とすることを検討するべきである。

Haemophilia (2004), 10, 147–157
© Blackwell Publishing Ltd.

Abstract: A. Kirtava, et al.

Abstract

女性 von Willebrand 病患者の臨床管理の動向：米国血友病センターの 75 例を対象とした調査

Trends in clinical management of women with von Willebrand disease: a survey of 75 women enrolled in haemophilia treatment centres in the United States

A. Kirtava, S. Crudder, A. Dilley, C. Lally and B. Evatt

目的：本研究の目的は、血友病センター（HTCs）における女性 von Willebrand 病（VWD）患者の管

理動向を評価することである。

方法：米国内 HTCs に登録している女性 VWD 患