

Abstract

カナダ人血友病 A 患者を対象とした定期補充療法の調査

A survey of factor prophylaxis in the Canadian haemophilia A population

P. Blanchette, G. Rivard, S. Israels, S. Robinson, K. Ali, I. Walker, A. M. Stain, and V. Blanchette, on behalf of The Association of Hemophilia Clinic Directors of Canada (AHCDC) and the Canadian Association of Nurses in Hemophilia Care

重症血友病 A 患者においては、高用量凝固因子製剤投与による定期補充療法 [第 VIII 因子 (FVIII) 製剤 25 ~ 40 国際単位 (IU)/kg の週 3 回以上の投与と定義する] を 1 ~ 2 歳時に開始することにより、関節内出血と関連し臨床的に重大な血友病性関節症の発症を予防することができる。しかし、定期補充療法のプログラムは極めてコスト高であるとともに、小児においては静脈アクセスが困難という問題がある。また、近年では遺伝子組換え型 FVIII 製剤が世界的に不足している。今回我々は、カナダにおける定期補充療法の実状を把握するための調査を実施 (2001 年) した。回答回収率は 83% で、カナダの 14 施設から定期補充療法 (週 1 回以上定期的に FVIII 製剤を投与している) を実施しているインヒビター陰

性血友病 A 患者 247 例が集計された。年齢の中央値は 13 歳 (1 ~ 65 歳) で、全体の 95% が重症症例であった (FVIII 活性レベルが 1% 未満である症例を重症と定義した)。1 回当たりの投与量の中央値は 26 IU/kg (16 ~ 33 IU/kg) で、全体の 67% は週 3 回以上投与していた。高用量は、5 歳未満の症例で最も高頻度に使用され [28 例中 23 例 (82%)], 5 ~ 12 歳, 13 ~ 18 歳, 19 歳以上ではそれぞれ 56% (100 例中 56 例), 66% (61 例中 40 例), 62% (58 例中 36 例) であった。定期補充療法に使用される FVIII 製剤は、カナダにおける FVIII 製剤全消費量の 50% を占めていた。さらに、1999 ~ 2003 年の 4 年間にカナダでは FVIII 製剤の使用量が 10% (1,930 万 IU) 増加したが、定期補充療法のための消費がその主たる原因であった。今後、定期補充療法の前方視的研究がますます推進されるため、経済的影響を配慮し、血友病 A 患者における至適な補充療法レジメンをより明確化する必要がある。

Table 1. Frequency of factor VIII infusion.

Frequency	Number of cases	%
Daily	11	4
Alternate days	33	13
×3-4 per week	2	1
×3 per week	110	45
×2-3 per week	9	4
×2 per week	55	22
Every third day	6	2
×1 per week	21	9
	247	100

Table 2. Full-dose prophylaxis (infusion ≥ × 3 per week).

Age (year)	Number of cases	Number on full-dose prophylaxis (%)	Median infusion dose (factor VIII Units kg ⁻¹)
<5	28	23 (82)	42.5
5-12	100	56 (56)	29.8
13-18	61	40 (66)	24.4
>18	58	36 (62)	29.8

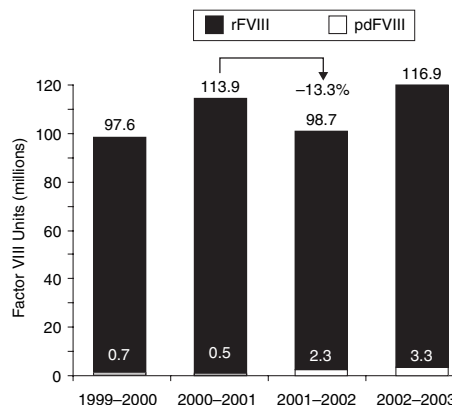


Fig. 1. Factor FVIII consumption (International Units) in the Canadian haemophilia A population during the period 1999-2003. rFVIII = recombinant FVIII; pdFVIII = plasma-derived FVIII.