

## Abstract (Clinical haemophilia)

## 重症および軽症血友病と比較した中等症血友病の臨床転帰

## Clinical outcome of moderate haemophilia compared with severe and mild haemophilia

I. E. M. Den Uijl, K. Fischer, J. G. Van Der Bom, D. E. Grobbee, F. R. Rosendaal and I. Plug

中等症血友病患者の臨床転帰および治療については、情報が不足している。本研究では、患者の自己申告に基づき、中等症血友病の疾患の負担を重症および軽症血友病と比較した。オランダ全国の血友病患者 1,567 例に出血様式、治療、障害および生活の質 (QOL) に関する質問票を送付した。1,066 例から回答を得られ (回答率: 68%), 16% は中等症, 44% は重症, 39% は軽症血友病であった (年齢中央値 36 歳)。中等症血友病患者の臨床転帰は、全体的に重症患者と軽症患者の間であったが、中等症患者は明らかな疾患の負担を報告した。中等症患者の大多数 (73%) は、過去 1 年間に出血エピソードを経験していた。また、中等症患者の多くが、関節機能障害 (43%), 慢性疼痛 (15%), 整形外科的補

助具の必要性 (24%) があり、また、27% は障害のために失業していた。中等症患者集団内においても、出血様式と臨床転帰に大きなバラツキが認められた。中等症患者の 1/4 は、他の中等症患者よりも出血症状がより重症で、何らかの形の定期補充療法を行っていた。さらに、この亜集団では出血頻度が高かったことに加え [中央値 8 件/年 (関節内出血については 2 件/年)], 68% が関節機能障害を有していた。結論として、中等症患者の臨床転帰は、概して重症患者と軽症患者の間であるが、この患者集団では明らかな疾患の負担がみられる。さらに、これらの患者の 25% 以上は、出血頻度が高いために長期の定期補充療法を実施していた。

**Table 2.** Outcome in all 1066 haemophilia patients in the year 2000.

	Mild haemophilia	Moderate haemophilia	Severe haemophilia
Annual no. bleeds	0 (0-3)	1 (0-13)	6 (0-25)
Annual no. joint bleeds	0 (0-0)	0 (0-6)	3 (0-15)
Without bleeds	61 (57-64)	27 (21-34)	8 (5-10)
Without joint bleeds	91 (88-93)	61 (54-68)	34 (30-39)
Without any impaired joints	72 (68-76)	57 (50-64)	39 (34-44)
Pain (yes)	7 (4-9)	15 (10-21)	29 (24-33)
Use of orthopaedic aids (yes)	11 (9-15)	24 (17-30)	49 (43-53)

Values presented are percentages (95% confidence interval), except for annual number of bleeds presented as median (10-90%).

**Table 3.** Socio-economic characteristics of haemophilia patients in the year 2000.

	Mild haemophilia	Moderate haemophilia	Severe haemophilia
Fulltime/part-time job	84 (80-88)	78 (70-86)	75 (69-80)
Occupational disability (yes)	24 (19-28)	27 (18-35)	41 (35-48)
Sick leave work (days)	2 (0-26)	2 (0-33)	4 (0-49)
Absence in school (days)	2 (0-17)	3 (0-14)	5 (0-20)
Participation in sports (yes)	56 (52-61)	54 (47-61)	52 (48-57)
Participation in sports (hours per week)	2.5 (0-5)	1.5 (0-5)	1.5 (0-7)

Values presented are percentages (95% confidence interval) or medians (10-90%).