

Haemophilia 日本語版

Vol. 10 No. 3 の編集に当たって



担当編集委員

白幡 聡

産業医科大学小児科

Haemophilia 日本語版 Vol. 10 No. 3 をお届けします。本号では全訳3編と、抄訳9編を取り上げました。1つ目の全訳論文は、遺伝子組換え型第IX因子製剤の回収率に関する報告です。欧米では既にひと昔前から遺伝子組換え型第IX因子製剤が使われてきました。一方、我が国では諸般の事情で長い間、上市されませんでした。ようやく今年の10月に製造販売の認可があり、まもなく我が国でも使えるようになります。遺伝子組換え型第IX因子製剤は第VIII因子製剤と比べて回収率が低く、しかも、個人差と加齢による変動があることが知られています。したがって、本来ですとあらかじめ、一人一人の患者で回収率を測定し、*tailor-made*で投与量を決める必要があるのですが、我が国では必ずしもそのことが守られていません。このレポートで報告されている日常診療における遺伝子組換え型第IX因子製剤の回収率の測定結果をみますと、個々の患者の間で回収率にかなりのバラツキがあり、*tailor-made*の投与量設定の意義がご理解いただけると思います。ただ、これまで血漿由来の第IX因子製剤では、同一患者の回収率は20歳頃までの加齢による変動を除けば複数の測定間でほとんど差がないと言われていたのに対して、このレポートでは同一患者でも投与ごとのバラツキがかなりあることが気になります。

2つ目の全訳論文は高齢血友病患者のケアに関する総説です。安全で優れた止血効果をもつ製剤の登場で、HIVやHCVの感染を免れた患者の平均寿命は着実に延長しています。それに伴い、これまで経験の少ない高齢血友病患者のケアが新たな課題となってきました。本論文では、高齢患者では依然として極めて大きな問題である血友病性関節症へのアプローチから始まり、C型肝炎、HIV感染症、軽症型患者でのインヒビター発現の危険性に対応、内科的疾患として、高血圧、腎異常、肥満、糖尿病、心血管疾患、さらに悪性腫瘍、抜歯、性的問題、心理的問題まで幅広く、高齢の血友病患者が遭遇しうる問題を取り上げています。我が国の血友病診療施設の中には成人患者も小児科医が診ているところが少なくありません。あらためてトータルケアの必要性を実感します。

3つ目の全訳論文はFEIBAの定期輸注に関する会議報告です。インヒビターを保有しない血友病患者の止血管理は定期補充療法により格段に改善しましたが、インヒビター保有患者の止血管理はいまだに難渋しています。これらの患者のQOLが、非保有患者と比べて低いことも明らかです。この状況を改善すべくバイパス止血製剤の定期輸注療法がヨーロッパを中心に拡がりつつあります。本レポートは、こうした背景の中でインヒビター保有血友病患者の治療経験が豊富な臨床家パネルが集まり、FEIBAの定期輸注あるいはイベント時輸注の適応とその方法について知識を検証し、これまでに累積された研究

データと臨床経験に基づきコンセンサス勧告を提示しています。この中で、例えば、頭蓋内出血を起こした患者には再発予防のため6～12ヵ月にわたりバイパス止血剤の定期輸注が勧められていることに、私個人として興味が惹かれました。

紙面の都合で部分抜粋となってしまいましたが、血友病患者に対する侵襲的手技時の補充療法のコンセンサスに基づく勧告も収録しました。これについては昨年、日本血栓止血学会からもガイドラインが提示されており、比べていただくと良いと思います。その他、抄訳として、「若年重症血友病患者の身体的活動への参加と出血の特徴」他7編を掲載しました。この中で、止血管理の難しいインヒビター保有血友病患者に対して、低用量のrFVIIaをボラス投与後すぐに低用量のFEIBAをボラス投与する方法は新しい止血治療戦略として注目されます。

今年の7月にボストンで第22回国際血栓止血学会が開催されました。本学会の講演の中で、英国Royal Free HospitalのE. G. D. Tuddenham先生は、「ここ20年の間、遺伝子組換え型第VIII因子製剤が使われ、製剤の改良がなされてきたが、その変化は小さなものであった。しかし、製造特許の失効を間近に控えて、新規の第VIII (IX) 因子製剤の開発が嵐のように進んでおり、実験段階のものも含めると新しい薬剤が20～50くらいある。私の印象ではここ2～3年以内に、私達の施設に受診している患者さんはすべて治験に入っているかもしれない。新しい製剤の開発目標の1つは半減期の延長である。その他、皮下注射剤のように投与しやすい製剤や安定性のよい製剤の開発も進められていて、血友病治療はまさにエキサイティングな時代の真只中にある」と述べておられたのが印象的でした。経口製剤についても、第VIII因子や第IX因子をインタクトな状態で消化管から吸収させるのは不可能と考えていたのですが、最近流行りのナノテクノロジーを用いたdrug delivery systemで、イヌの第VIII因子DNAを親水性外殻にくるんで血友病マウスに経口投与したところ、第VIII因子が血中に出現し、凝固検査所見も改善したという報告がなされました。

吉岡 章先生と同時期に私が血友病診療にかかわるようになってから、その光と影の部分を経験してきましたが、今後の展望をみて大きな期待を抱くとともに戸惑いを感じるのも正直なところ です。