

# 定期補充療法の現状と 半減期延長型製剤の役割

東京医科大学医学部医学科臨床検査医学分野 天野 景裕  
東京医科大学血液凝固異常症遺伝子研究寄附講座

## KEY WORDS

- 定期補充療法
- 半減期延長型製剤
- 個別化治療
- PEG
- FcRn

The current status of regular replacement therapy and the role of extended half life factor concentrates.

Kagehiro Amano (教授)

## はじめに

血友病の補充療法は凝固因子製剤の安全性と利便性が高められてきたことで、出血時の止血管理にとどまらず、定期補充療法により患者の生活の質(quality of life; QOL)を健常人に近づけることに発展している。さらに半減期延長型製剤(extended half life製剤; EHL製剤)の登場により、患者に合わせた個別化治療へと進化している。本稿では定期補充療法の現状とEHL製剤の役割について解説する。

## I. 定期補充療法とは

血友病の臨床的重症度は凝固因子活性と相関しており、第Ⅷ(Ⅸ)因子活性の程度によって、1%未満が重症型、1~5%未満が中等症型、5%以上が軽症型と分類されている。重症型では自然出血として関節内・筋肉内出血が高頻度にみられるが、中等症では自然

出血は少なくなり、軽度の外傷などにより出血する。軽症型では自然出血はほとんどみられなくなる。1%未満の重症型では関節内出血を繰り返すことによる慢性変化である血友病性関節症の発症進行が問題となる。補充療法によりトラフレベルを少なくとも1%以上にすれば、理論的にはその患者は重症ではなくなるため、関節症発症の予防になるのではないかと考えられる。そこで、出血の有無や活動負荷の強さに関わらず第Ⅷ(Ⅸ)因子を長期間にわたり定期的に補充する投与方法が考案され、この方法を定期補充療法という。

## II. 定期補充療法の実際

重症血友病患者に対し、第Ⅷ(Ⅸ)因子活性を1%以上に維持し中等症以上にするために、半減期標準型製剤(standard half life製剤; SHL製剤)使用の場合は、血友病Aで25~40単位/kg/回を週3回、血友病Bで25~40単