エイフスチラ静注用

2.2　緒言

CSL ベーリング株式会社

2.2. 緒言

血友病 A はまれに起こる重篤な X 連鎖劣性の出血性疾患であり、主に男性で見られ、血液凝固第 VIII 因子（FVIII）欠乏を特徴とする。血友病 A 患者では主たる血小板由来の止血機能は影響を受けないが、トロンビン産生量が不十分であるために安定したフィブリン血栓が生成されない。血友病 A 患者では非外傷性の自然出血及び外傷時の出血時間の著しい延長が見られる。まれに、生命を脅かす出血が生じることがある。

血友病 A 治療の主な目的は出血時の出血エピソードの管理（オンデマンド療法）又は出血エピソードの抑制（定期補充療法）のいずれかである。外因性 FVIII［血漿由来 FVIII 又は遺伝子組換え FVIII（rFVIII）］補充療法では、止血のために投与された FVIII の増加により凝固因子の欠乏状態が一時的に改善される（オンデマンド療法）か、又は出血が抑制される（被験者個々に合わせたレジメンでの定期補充療法）。定期補充療法の目的は疾患重症度を重度から中等度に下げることであるが、治療目標はできるだけ多くの関節出血を抑制し、それにより障害が残るような関節疾患の進行を遅らせる（又は抑制する）ことである。

本剤（アフスチラ静注用）は遺伝子組換え単鎖血液凝固第 VIII 因子［recombinant, single-chain coagulation FVIII：単鎖 rVIII（開発コード CSL627）］を含む静脈内注射用の凍結乾燥製剤である。

本剤はその天然の担体タンパク質であるフォン・ヴィレブランド因子に対して、他の rFVIII 分子よりも強力な親和性を示す（Schulte, 2013）。フォン・ヴィレブランド因子は FVIII に結合し、FVIII 分子を初期のタンパク質分解から保護することから、より強力な親和性により PK プロファイルが改善するものと考えられる。

本剤の臨床試験結果より、血友病 A 患者の出血エピソードの管理・抑制、定期補充療法（20～50 IU/kg の週 2～3 回投与）及び周術期の補充療法における本剤の有効性及び安全性が示された。本剤の使用に関連する安全性のリスクは同じクラスの他の薬剤と同程度である。本剤のベネフィットはリスクを明らかに上回り、全年齢群及び全人種／民族の血友病 A 患者における本剤の全体的なベネフィット - リスク比は好ましいものと考えられた。

本剤の効能又は効果及び用法及び用量は以下の通りである。

【効能又は効果】

血液凝固第 VIII 因子欠乏患者における出血傾向の抑制

【用法及び用量】

本剤を添付の溶解液全量で溶解し、緩徐に静脈内に注射する。

通常、1 回体重 1 kg 当たり 10～30 国際単位を投与するが、患者の状態に応じて適宜増減する。

定期的に投与する場合、通常、体重 1 kg 当たり 20～50 国際単位を週 2 回又は週 3 回投与する。