

「研究課題名：後天性血友病 A 患者を対象とした FVIIa/FX による出血予防投与に関する臨床研究」について

1. 研究の対象

本研究の対象者は、実施承認日から 2026 年 2 月の間に、名古屋医学医学部附属病院、群馬大学医学部附属病院、兵庫医科大学病院、東京医科大学病院、広島大学病院並びに愛媛大学医学部附属病院にて後天性血友病 A と診断され、本研究に参加の同意をされた方です（20 歳以上、性別問わず）。

2. 研究目的・方法・研究期間

研究目的：

後天性血友病 A 患者の出血予防として、乾燥濃縮人血液凝固第 X 因子加活性化第 VII 因子（FVIIa/FX）の出血予防治療を行った患者さんから有効性、安全性に関する情報を取得し、FVIIa/FX の出血予防効果を評価します。

研究方法：

研究デザイン：多機関共同前向き観察研究

目標症例数：全体：24 例（本学 4 例）

症例数設定根拠：後天性血友病 A 患者の発生頻度は低く、本研究参加施設でも年間 2～3 例程度と考えられ、臨床研究の実施可能性を鑑み、観察期間 2 年での

目標症例数を 2 例×6 施設×2 年間で 24 例としました。

主要アウトカム：出血予防投与期間中に治療を要した出血回数（年換算出血率）

副次アウトカム：①寛解率及び寛解までの期間

②臨床検査値※の推移

③研究対象者の日常生活動作（ADL）：バーサルインデックスの推移

④重篤な有害事象（有害事象名、発現時期、因果関係）

【臨床検査】

- ・凝固・線溶マーカー：APTT、TAT、F1+2、D-dimer
- ・第 VIII 因子活性
- ・第 VIII 因子インヒビター力価

※以下の臨床検査は測定可能な場合に評価します。

- ・トロンビン生成試験
- ・FX 活性・抗原（FVIIa/FX で出血予防投与を行った場合のみ）

研究期間：実施承認日～2027 年 3 月 31 日

3. 研究に用いる試料・情報の種類

試料：血液（血漿）

情報：

新規情報：①出血予防治療状況、②出血予防治療時の併用薬剤、③寛解までの期間、④臨床検査値、⑤出血予防治療期間中の出血状況、⑥出血予防治療期間中の止血治療、⑦研究対象者の日常生活動作（ADL）、⑧重篤な有害事象

既存情報：①患者背景、②出血状況、③止血治療状況間中の出血回数

※いずれも個人を特定しうる情報は用いません。

4. 外部への試料・情報の提供

共同研究機関への情報の提供は、特定の関係者以外がアクセスできない状態で行います。対応表は、本学の研究責任者が責任を持って保管・管理します。

5. 研究組織

共同研究機関及び研究責任者

①研究実施機関

群馬大学医学部附属病院 血液内科 講師 小川 孔幸

兵庫医科大学病院 呼吸器・血液内科 講師 澤田 暁宏

東京医科大学病院 臨床検査医学科 助教 備後 真登

広島大学病院 輸血部 助教 山崎 尚也

愛媛大学医学部附属病院 輸血・細胞治療部 特任教授 山之内 純

②検体測定機関

KM バイオロジクス株式会社 メディカルアフェアーズ 水田 智之

6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。

ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、試料・情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としないので、下記の連絡先までお申出ください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

研究責任者：広島大学病院輸血部 助教 山崎 尚也

〒734-8551 広島市南区霞 1-2-3

直通電話番号：082-257-5581

e-mail：naoya64@hiroshima-u.ac.jp