

การศึกษาการให้แฟกเตอร์แปดเข้มข้นระยะสั้นอย่างสม่ำเสมอเพื่อป้องกันภาวะเลือดออกในผู้ป่วยฮีโมฟีเลีย เอ

นางสาวธนีย์พร อินทรา

บทคัดย่อ

บทนำ: โรคฮีโมฟีเลีย เอ เกิดจากการขาดแฟกเตอร์ VIII มีเลือดออกในข้อเป็นอาการสำคัญการรักษามาตรฐานสำหรับผู้ป่วยฮีโมฟีเลียชนิดรุนแรง คือการให้การรักษาแบบ continuous prophylaxis ซึ่งประเทศไทยมีข้อจำกัดด้านงบประมาณ มีศึกษาว่าการให้ low dose short course prophylaxis สามารถลดการเกิดเลือดออกในข้อ และใช้ปริมาณแฟกเตอร์ VIII เข้มข้นน้อยกว่า แต่ยังไม่มีการศึกษาถึงผลของการรักษาวิธีนี้ต่อการเกิดเลือดออกของ target joint ในผู้ป่วยไทย

วัตถุประสงค์: เพื่อศึกษาจำนวนการเกิดเลือดออกในข้อระหว่างช่วงที่ให้การรักษาแบบ on demand period เปรียบเทียบกับการรักษาแบบ short course low dose prophylaxis และจำนวนการเกิดเลือดออกในข้อหลังหยุดการรักษาแบบ prophylaxis นอกจากนี้ยังต้องการเปรียบเทียบอัตราการใช้แฟกเตอร์ VIII เข้มข้น ช่วงก่อนและหลังการรักษาแบบ short course prophylaxis

วิธีการศึกษา: ศึกษาในผู้ป่วยฮีโมฟีเลีย เอ ชนิดรุนแรงปานกลางและรุนแรงมากที่มี target joint โดยแบ่งการศึกษาเป็น 3 ช่วง ช่วงละ 8 สัปดาห์คือ on demand period 1 , tertiary short course prophylaxis และ on demand period 2 โดยในช่วง prophylaxis ผู้ป่วยจะได้รับแฟกเตอร์ VIII เข้มข้น 10 IU/kg/dose 2 ครั้งต่อสัปดาห์ แต่ละช่วงการศึกษามีการเก็บข้อมูลจำนวนการเกิดเลือดออกในข้อ วัดขนาดรอบข้อและมุมการเคลื่อนไหวของข้อที่ศึกษา รวมถึงภาวะแทรกซ้อน

ผลการศึกษา: จากผู้เข้าร่วมแบ่งเป็นฮีโมฟีเลียชนิดรุนแรงปานกลางและชนิดรุนแรงมากร้อยละ 57.1 และ 42.9 ตามลำดับ พบว่าการเกิดเลือดออกในข้อต่อเดือนในช่วง short course secondary prophylaxis น้อยกว่าช่วง on demand 1 อย่างมีนัยสำคัญทางสถิติ (p value 0.018) เช่นเดียวกับเปรียบเทียบเลือดออกในข้อเป็นรายบุคคลลดลงเช่นกัน (p value 0.006) แต่พบว่าเมื่อเปรียบเทียบช่วง on demand 1 กับ on demand 2 จำนวนการเกิดเลือดออกในข้อไม่แตกต่างกัน (p value 1) จากการติดตามไม่พบสารต้านแฟกเตอร์ VIII รวมทั้งภาวะแทรกซ้อนอื่นๆภายหลังการรักษา

บทสรุป: การรักษาแบบ low dose prophylaxis สามารถลดการเกิดเลือดออกในข้อได้อย่างมีนัยสำคัญ แม้ระยะเวลาการรักษาเพียง 8 สัปดาห์นั้นอาจไม่ยาวนานเพียงพอที่จะเห็นผลในการรักษาภาวะข้ออักเสบเรื้อรังหรือ target joint ใดๆก็ตามจากค่าใช้จ่ายของแฟกเตอร์ VIII เข้มข้นที่น้อยกว่าแบบ continuous standard prophylaxis ตาม World Federation of Hemophilia (WFH) แนะนำมาก ทำให้ low dose prophylaxis อาจเป็นทางเลือกหนึ่งที่จะนำมาประยุกต์ใช้ของการรักษา ฮีโมฟีเลียชนิดรุนแรงมากในประเทศไทยที่มีข้อจำกัดด้านงบประมาณ

LOW DOSE SHORT COURSE TERTIARY PROPHYLAXIS WITH FACTOR VIII CONCENTRATE IN HEMOPHILIA A

MISS THANEEPORN INTRA

Abstract

Background: Hemophilia A is a disorder caused by factor VIII deficiency. Hemarthrosis is a hallmark of disease. Continuous prophylaxis is a recommended treatment for severe hemophilia A. Unfortunately standard dosage continuous prophylaxis cannot be provided to most of Thai patients due to limitation of government budget. Recently research demonstrates the efficacy low dose short course prophylaxis to reduce hemarthrosis. This study examines the efficacy of this strategy on severe hemophilia A patients with target joint disease in Thailand.

Objective: To compare frequency of hemarthrosis between on demand period and short course low dose prophylaxis, frequency of hemarthrosis before and after short course low dose prophylaxis. To compare amount of factor VIII used before and after short course prophylaxis.

Methods: Patients with moderate or severe hemophilia A who have target joint disease were eligible. This study consisted of 3 periods, each 8 weeks; on demand period 1, short course low dose prophylaxis period and on demand period 2. During 8 weeks of prophylaxis period, patients were received factor VIII concentrate 10 IU/kg/dose 2 times a week. Frequency of hemarthrosis, joint circumference, range of motion, factor VIII concentrate used and complications were recorded for each period.

Results: Moderate hemophilia A and severe hemophilia A were 57.1% and 42.9 %, respectively. Total hemarthroses during the short course tertiary prophylaxis was significantly lower than those on demand period 1 (3.5 times per month vs 17.5 times per month; p value=0.018), and hemarthroses in individual case were also significantly lower during the short course tertiary prophylaxis than those during on demand period 1 (p value 0.006). However, total and individual hemarthroses during on demand period 1 and on demand period 2 were not significantly different (p value=1). There was no occurrence of factor VIII inhibitor and complication during the trial.

Conclusions: Low dose prophylaxis effectively reduces hemarthrosis in patients with moderate and severe hemophilia A. However, frequency of hemarthrosis increases to previously untreated rates after stopping prophylaxis. This may reflect that 8-week prophylaxis is not long enough to improve target joints disease. Nevertheless, effectively reducing hemarthrosis and lower yearly cost compared to standard dose, continuous low dose prophylaxis may be an alternative choice of treatment for hemophilia in developing country.

Keywords: factor VIII concentrate, hemarthrosis, hemophilia A, low dose prophylaxis, target joint.