



参考文献

レビュー論文

Krumb, E. and Hermans, C. [Living with a “hemophilia-free mind” – The new ambition of hemophilia care?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A *et al.* [WFH Guidelines for the Management of Hemophilia](#), 3rd edition. *Haemophilia* 2020; 26, 1–158.

Weyand AC, Pipe SW. [New therapies for hemophilia.](#) *Blood* 2019; 133:389-398.

凝固因子補充療法

血友病 A の承認 SHL 製剤

アドベイト	FDA	EMA	カナダ保健省
コージネイト FS	FDA		
コバルトリイ	FDA	EMA	
ノボエイト	FDA	EMA	
ヌーイック	FDA	EMA	カナダ保健省
XYNTHA/ReFacto AF	FDA	EMA	カナダ保健省

血友病 A の承認 EHL 製剤

アディノベイト/ADYNOVI	FDA	EMA	カナダ保健省
イロクテイト/Elocta	FDA	EMA	カナダ保健省
イスパロクト	FDA	EMA	カナダ保健省
ジビイ	FDA	EMA	カナダ保健省

血友病 A の承認 UHL 製剤

オルツビーオ	FDA		
--------	---------------------	--	--

血友病 B の承認 SHL 製剤

ベネフィクス	FDA	EMA	カナダ保健省
IXINITY	FDA		
リクスビス	FDA	EMA	カナダ保健省

血友病 B の承認 EHL 製剤

オルプロリクス	FDA	EMA	カナダ保健省
イデルビオン	FDA	EMA	カナダ保健省
REBINYN/レフィキシア	FDA	EMA	カナダ保健省

二重特異性抗体療法

承認製剤

ヘムライブラ（エミシズマブ） [FDA](#) [EMA](#) [カナダ保健省](#)

第3相試験

進行中の Mim8 の第3相試験：NCT05053139、NCT05306418、NCT05685238、NCT05878938

止血リバランス療法

承認製剤

アレモ（コンシズマブ） [カナダ保健省](#)

Matsushita, T. et al. [Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors](#). N. Engl. J. Med. 389, 783–794 (2023).

第3相試験

Young G et al. [Efficacy and safety of fitusiran prophylaxis in people with haemophilia A or haemophilia B with inhibitors \(ATLAS-INH\): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial](#). *Lancet* 2023; 401:1427-1437.

Srivastava, A et al. [Fitusiran prophylaxis in people with severe haemophilia A or haemophilia B without inhibitors \(ATLAS-A/B\): a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial](#). *Lancet Haematol.* 2023; 10, e322–e332.

Pfizer. [Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial](#). May 30, 2023.

遺伝子治療全般

Konkle BA et al. [World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients](#). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes](#). *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang M et al. [The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making](#). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

血友病 A の遺伝子治療

承認製剤

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

主要な臨床試験

Mahlangu J *et al.* [Two-Year Outcomes of Valoctocogene Roxaparvovec Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2023; 388:694-705.

Ozelo MC *et al.* [Valoctocogene Roxaparvovec Gene Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

血友病 B の遺伝子治療

承認製剤

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[カナダ保健省](#)

BEQVEZ

[カナダ保健省](#)

主要な臨床試験

Pipe SW *et al.* [Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B](#). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

最終レビュー：2024年8月

本文書は生きた文書であり、年2回、新たなエビデンスを加えて更新されます。6月30日と12月31日を期限とし、翌月以降に更新が行われます。この期限以降の新たなエビデンスは、次の更新に含まれます。