

Efficacy of long-term adrenocorticotrophic hormone therapy for West syndrome: A retrospective multicenter case series

メタデータ	言語: Japanese 出版者: 浜松医科大学 公開日: 2022-03-31 キーワード (Ja): キーワード (En): 作成者: 馬場, 信平 メールアドレス: 所属:
URL	http://hdl.handle.net/10271/00004112

論文審査の結果の要旨

West 症候群は、てんかん性スパズム、ヒプスアリスミア、発達停滞・退行を特徴とする、乳児期発症の難治性てんかん症候群である。治療は、2-4 週間の ACTH の連日筋肉内投与が一般的であるが、最適な投与量・投与方法・投与期間は確立されていない。また、近年、ACTH 連日投与後に週 1 回の ACTH 投与を 7-12 か月間行う長期 ACTH 療法が、再発例や連日投与で効果が認められなかった患者に有効であったことが報告されている。しかし、これらは症例報告で、多症例に対する有効性の検討はなされていない。本研究では、長期 ACTH 療法を「1- 4 週間の ACTH 連日投与とそれに続く 3 か月以上の ACTH 週 1 回投与」と定義し、長期 ACTH 療法の再発予防効果を多症例で検証することを目的とした。

全国の 484 施設の小児神経専門医を対象にアンケート調査を行い、長期 ACTH 療法を受けた West 症候群患者 21 例の臨床情報と治療のプロトコルを収集した。てんかん性スパズムとヒプスアリスミアの両方が消失した場合を「有効」とし、いずれかが再び出現した場合を「再発」とした。連日投与終了時点で有効であった 16 例について、連日投与終了時点から 24 か月までの非再発率を、 Kaplan-Meier 法を用いて算出した。

連日投与が有効であった患者 16 例において、長期 ACTH 療法開始時点の年齢は 14.5 か月（中央値）で、9 例は脳構造異常、3 例は遺伝的病因を有しており、8 例で発症時に発達の遅れが認められた。また、13 例は以前に ACTH 療法を受けたことがあった。治療による副腎皮質不全などの致死的副作用は認められなかった。ACTH 連日投与後 24 か月までの非再発率は 60.6% (95%信頼区間: 32.3% - 80.0%) で、従来の連日投与のみの非再発率 (59.0-63.3%) と同程度であった。しかし、本研究の解析対象者は ACTH 療法への抵抗性が高い患者群と考えられ、本来はより低い非再発率であるが、治療によって改善された可能性が示唆された。

審査委員会では、初めて長期 ACTH 療法の再発予防効果を多症例で検討し、再発性や治療抵抗性の West 症候群に対する長期 ACTH 療法の有効性を確認し、治療の選択肢を広げたことを高く評価した。

以上により、本論文は博士（医学）の学位の授与にふさわしいと審査員全員一致で評価した。

論文審査担当者

主査 星 詳子

副査 福田 敦夫

副査 中村 友彦