

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業
多系統蛋白質症 (MSP) 患者の全国実態調査と診療体制構築に関する研究班
分担研究報告書

骨パジェット病患者でリセドロネート治療の安全性と治療効果の評価と 文献レビューからみた多系統蛋白質症・骨パジェット病診療の留意点

研究分担者 独立行政法人国立病院機構大阪南医療センター・統括診療部長 橋本淳
共同研究者 EA ファーマ株式会社メディカル部育薬情報グループ 新井幸

研究要旨 骨パジェット病 (PDB) 患者でのリセドロネート高用量連日投与治療の良好な安全性と効果を
確認し、その効果はビスフォスフォネートナীব例で良好であることが明らかとなった。また多系統
蛋白質症 (MSP) 患者にみられる PDB は若年性であり、PDB に筋力低下症状が先行する例と筋力低下に PDB
が先行する例いずれもあることに留意した診療が大切であることが文献レビューにより見出された。

A. 研究目的

本研究では今後の PDB、MSP 診療体制向上を目標として次の二つをおこなう。

- ① PDB 患者でのリセドロネート高用量連日投与開始後の安全性と治療効果を評価する。
- ② MSP 診療の中での PSB 未診断を回避し PDB の効率的な診断につながる留意点を見出す。

ドロネート 17.5 mg 連日 56 日間投与の 1 クール目での血清 ALP 正常化率は 71.1% であった。正常化に至らない統計学的有意な要因は、先行するビスフォスフォネート投与であった。

MSP にみられる PDB の特徴を 8 家系 17 例の報告から、MSP での PDB は 30 代の若年発症が多いという特徴を持つ。また筋力低下が先行する例、PDB が先行する例のいずれもみられる。

B. 研究方法

- ① PDB 治療薬の市販後長期前例調査の学術的指導を行い診療に必要な臨床的情報を得る。
- ② 論文レビューで行う。
(倫理面への配慮)
当施設がデータを扱うことはない。

D. 考察

PDB の薬物療法は初期治療にリセドロネート高用量連日投与が効果的である。また筋力低下が先行する例、PDB が先行する例のいずれもあることへの留意が MSP あるいは PDB 診療時に重要である。

C. 研究結果

リセドロネート高用量連日投与開始された骨パジェット病患者 182 名に 42 名に副作用が確認されたが入院を要する重篤なものはなかった。リセドロネート高用量連日投与開始された骨パジェット病患者 182 名に 42 名に副作用が確認されたが入院を要する重篤なものはなかった。2 名以上に見られた副作用は、低カルシウム血症 (6 例) 嘔気 (5 例) 胃不快感 (4 例) 便秘 (3 例) ディスペプシア (3 例) 発熱 (3 例) 食道炎 (2 例) 軟便 (2 例) 肝酵素上昇 (2 例) 腰痛 (2 例) であった。

ALP 初期値が正常上限以上の 159 例でみたリセ

E. 結論

MSP の一病状として PDB がみられることが知られてきている中で、診断効率と治療効率上昇につながる情報を得た。

F. 健康危険情報

特になし

G. 研究発表

1. 論文発表

特になし

2. 学会発表

特になし

2. 実用新案登録

特になし

H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む）

1. 特許取得

特になし

3. その他

特になし