

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
(総合) 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 文献レビューに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

本邦で希少疾患のPDBは診断ガイドラインが策定されているが、希少頻度ために一般診療の中では未診断のまま見過ごされることも少なくない。またその薬物治療経験のある医師は非常に少なく、治療薬の安全性と効果に関する情報の普及は大切である。一方、封入体筋炎など筋力低下をきたす多系統蛋白質症(MSP)という疾患の一病状としてPDBがみられることが知られてきている。そこで

- 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の評価する。
- ② MSP診療中での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。

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体制構築に必要な臨的特徴を見出す。
- 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。

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。ALP初期値が正常上限以上の159例でみたリセド

ロネート17.5mg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。

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。

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、MSP、PDBの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