

Adjunctive effects of eltrombopag on immunosuppressive therapy for childhood aplastic anemia.

江口, 克秀

<https://hdl.handle.net/2324/7363921>

出版情報 : Kyushu University, 2024, 博士 (医学) , 論文博士
バージョン :
権利関係 :



氏 名： 江口 克秀

論文名： Adjunctive effects of eltrombopag on immunosuppressive therapy for childhood aplastic anemia.

(小児再生不良性貧血に対する免疫抑制療法におけるエルトロンボパグの併用効果)

区 分： 乙

論 文 内 容 の 要 旨

エルトロンボパグは、成人の再生不良性貧血に対する免疫抑制療法の第一選択薬として使用されているが、小児再生不良性貧血における実用性はまだ明らかではない。我々は、日本でエルトロンボパグを投与された小児患者の転帰を後方視的に解析した。対象患者27例のうち、23例(85%)に前治療歴があり、15例(56%)が重症または最重症であった。17例(63%)が、ウサギ抗胸腺細胞グロブリンとシクロスポリンAの治療開始と同時もしくは開始後にエルトロンボパグを投与された。エルトロンボパグ治療開始後1年以内に、12例の患者で良好または部分的奏効を示し、15例で治療反応が得られず、そのうち8例の非奏効者に造血細胞移植を行われ成功した。エルトロンボパグ治療開始後3か月以内に、輸血依存症例は1例を除いて全例輸血非依存となった。12か月時点で、12例中6例が無病・無治療となった。1年間の全奏効率は、非重症例よりも重症または最重症例の方が高かった($p=0.006$)。多変量解析では、エルトロンボパグ治療開始時に最重症であることが無病・無治療となる予測因子であった($p=0.03$)。細胞遺伝学的異常を認めた症例はなかったが、最重症かつ非奏効例の1名でエルトロンボパグ治療開始4か月後に骨髓線維症を発症した。エルトロンボパグ併用療法に対する最初の3か月間の反応は、疾患治癒のために安全かつ効果的に使用するための指針になるかもしれないが、長期的な効果を判定するためには前向き試験が必要である。