

# 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 :



(別紙様式 2)

|        |                                                                                                                                         |
|--------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 氏 名    | 江口 克秀                                                                                                                                   |
| 論 文 名  | Adjunctive effects of eltrombopag on immunosuppressive therapy for childhood aplastic anemia.<br>(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) |
| 論文調査委員 | 主 査 九州大学 教授 國崎 祐哉<br>副 査 九州大学 教授 前田 高宏<br>副 査 九州大学 教授 加藤 聖子                                                                             |

## 論 文 審 査 の 結 果 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。申請者らは、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敵に解析した。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の治療開始と同時に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か月後に骨髄線維症を発症した。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。

以上の成績はこの方面の研究の発展に重要な知見を加えた意義あるものと考えられる。本論文についての試験はまず論文の研究目的、方法、実験成績などについて説明を求め、各調査委員より専門的な観点から論文内容及びこれに関連した事項について種々質問を行ったが適切な回答を得た。

よって調査委員合議の結果、試験は合格と決定し、博士(医学)の学位に値すると認める。

なお本論文は共著者多数であるが、予備調査の結果、申請者が主導的役割を果たしていることを確認した。