

【Remudy ニュースレター第12号】

DMD のステロイド治療に関する論文の紹介

配信日:2012年 8月27日

今回は、ステロイド治療に関する論文の情報を提供します。

現在、Remudy では DMD/BMD の登録患者さんのステロイドの服用状況についてデータの解析をすすめており、参考文献を集めています。そのなかで皆様に情報提供できそうなものがありましたので今回ニュースレターとして発信します。

Change in Natural History of Duchenne Muscular Dystrophy With Long-term Corticosteroid Treatment: Implications for Management Richard T. et al. Journal of Child Neurology 25(9) 1116-29, 2010

この文献では、ステロイド治療によるDMDの自然歴の向上した内容として、歩行期間延長、呼吸・心臓・整形外科的合併症の改善だけでなく、生活の質の改善について報告されています。

「DMDのQOL、とくに教育や就労、自立に関するQOLが向上している。73人のDMDのうち、34人が大学に進学、7人が就労、6人が一人暮らしをし、2人が自動車の運転をし、1人は結婚をしている」とのデータを紹介しています。今後、成人DMDに対して疾患自体のコントロールと同様に社会参加への支援も必要だと考えられます。

今後検討すべき点として、1)ステロイド治療の分子メカニズム、2)投与時期と投与量、3)他の治療との組み合わせ、4)ベストな評価方法の検討、の4点を上げています。将来の根本治療の開発が達成されるまでに、今できる最も有用な治療法としてのステロイド治療について十分な長期的な観察が必要だ、と結ばれています。

本研究の結果だけで、ステロイド治療が単独で生活の質を改善する効果があると結論づけるのは尚早だと思います。一施設のデータで、ステロイドを投与していない患者様との比較検討もなされたわけではないからです。しかし総合的な医療・社会的なケアの充実が患者様の生活の質を着実に改善することを示唆している点で心強く感じます。

こういった臨床研究をすすめる上では世界の幅広い地域での情報収集と同時にきめ細やかな評価が必要です。世界中ですすめられている患者情報登録が、こういった臨床研究の基盤になるデータを提供することができるようにこれからも頑張ってください。

また登録患者さんを中心にご回答をいただいている日本版 Care NMD のDMD アンケートの解析も少しずつ進んでいるようです。

日本でも筋ジストロフィーの治験拠点整備、包括的診療ガイドラインの研究班(小牧宏文班長)を中心に「筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク」が立ち上がりました。みんなで力を合わせて、これからの臨床研究・臨床試験が進んでいくように頑張ってください。

今回の情報提供は、国立精神・神経医療研究センターの竹内芙実先生、刀根山病院の松村剛先生のご意見・ご指導をいただきました。両先生に深謝申し上げます。

Remudy ニュースレターでは、今回のように文献の紹介も積極的に取り入れて参ります。筋ジストロフィーの臨床研究・臨床試験についての情報の共有が一つのキーワードとして大切です。

皆様のグループ・教室の抄読会などで取り上げられた文献、皆様に紹介したもの、またこのニュースレターに関するご意見やおしかりの声など募集します。どうぞお気軽にご意見をお寄せください。

これからもどうぞよろしくお願いいたします。

ニュースレター担当:木村 円 remudy@ncnp.go.jp