

【Remudy ニュースター第 99 号】

配信日：2016 年 12 月 21 日

論文の紹介：デュシェンヌ型／ベッカー型筋ジストロフィーの心筋線維化に対する治療研究

Myocardial Fibrosis Progression in Duchenne and Becker Muscular Dystrophy - A Randomized Clinical Trial.

Marly Conceição Silva MC *et al.*

JAMA Cardiol. Published online December 7, 2016. doi:10.1001/jamacardio.2016.4801

→ <http://jamanetwork.com/journals/jamacardiology/article-abstract/2590067>

筋ジストロフィーは筋肉に異常をきたす病気であるため心臓の筋肉にも異常をきたすことが多く、合併する心筋症の管理は重要な問題となっています。心臓の筋肉(心筋)において変性(線維化)が少しずつ出現し、それが心筋内である程度の範囲に広がると、心収縮機能などのポンプとしての機能に異常がでてきます。

ACE 阻害薬は一般の高血圧や心不全の患者さんにも広く使用されている薬であり、過去に筋ジストロフィー心筋症を対象にした試験においても有効性が確認されています。筋ジストロフィー心筋症に対して有効な治療薬が存在することは確認されているものの、内服治療をいつ始めるのが最善であるかについては解決の必要な問題として残っていました。現在のデュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドラインでは、心臓の収縮機能に異常を確認された時点を ACE 阻害薬による治療開始タイミングとして推奨されていますが機能異常は心筋変性(線維化)がかなり進行してから出現しますので、その前段階の心筋変性の進行を防ぐために、より早い治療介入が望ましいとの意見も少なからずありました。

今月の JAMA Cardiology において、ジストロフィン異常症の患者さんに対する ACE 阻害薬の早期投与が心筋症の進行を抑制できたと報告されました。

今回の試験結果で注目すべきポイントは 2 つあります。

1 つめは、機能異常がある患者さんは 17%のみであっても、すでに 72%もの患者さんに心筋変性(線維化)が認められたことです。

2 つめは、まだ機能障害が出現していない患者さんに対しても、早期に ACE 阻害薬を投与することで心筋変性の進行を抑制できることが確認されたことです。

心臓の機能異常が出現する前から内服治療を開始するべきである、との意見を支持する研究結果が示されたことにより今後の診療ガイドラインの改訂や筋ジストロフィー心筋症に対する薬物治療の開始タイミングの早期化につながるものと考えられます。

(東京大学医科学研究所 先端診療部/循環器内科 木村公一先生)