


[NEJMとは](#) [年間購読](#) [サイトライセンス](#) [Contents News配信サービス](#) [NEJM オリジナルサイト](#) [投稿規定](#) [広告掲載](#)
[日本語TOP](#) [Current Issue](#) [Past Issues](#) [THIS WEEK in the JOURNAL](#) [購読者オンライン登録方法](#)

「The New England Journal of Medicine 日本版」は、必要な論文に簡単にアクセスできるよう「主要論文アブストラクト」「Table of Contents」「This Week in the Journal」を、日本語訳にてご提供しています。

364-1595

リンパ脈管筋腫症に対するシロリムスの有効性と安全性

Efficacy and Safety of Sirolimus in Lymphangiomyomatosis

F.X. McCormack and others

- 背景** リンパ脈管筋腫症(LAM)は、女性にみられる進行性の嚢胞性肺疾患である。LAM は、細胞増殖とリンパ管新生を調節する哺乳類ラパマイシン標的蛋白(mTOR)シグナル伝達の、不適切な活性化と関連している。シロリムス(ラパマイシンとも呼ばれる)は mTOR を阻害し、LAM 患者も対象に含まれた第 1~2 相試験では期待できる結果が示されている。
- 方法** 中等度の肺機能障害を有する LAM 患者 89 例を対象に、シロリムスとプラセボの無作為化二重盲検比較を 12 ヶ月間行い、その後 12 ヶ月間観察する 2 段階の試験を行った。主要エンドポイントは、1 秒量(FEV₁)の変化率(勾配)の群間差とした。
- 結果** 治療期間中のFEV₁の勾配は、プラセボ群(43 例) -12±2 mL/月、シロリムス群(46 例) 1±2 mL/月であった(P<0.001)。治療期間中の FEV₁ の変化(平均)の群間差の絶対値は 153 mL であり、登録時の平均 FEV₁ の約 11%であった。シロリムス群では、ベースラインから 12 ヶ月までに、プラセボ群と比較して、努力性肺活量、機能的残気量、血清血管内皮増殖因子 D(VEGF-D)濃度、QOL・機能的能カスコアが改善した。同期間の 6 分間歩行距離と一酸化炭素肺拡散能の変化には、有意な群間差は認められなかった。投与中止後、シロリムス群では肺機能が再び低下し始め、プラセボ群と平行して低下した。有害事象はシロリムス群でより多く発生したが、重篤な有害事象の頻度に 2 群間で有意差は認められなかった。
- 結論** LAM 患者において、シロリムスは肺機能の安定化と血清 VEGF-D 濃度の低下をもたらし、症状軽減と QOL 向上にも関連していた。シロリムスによる治療は、特定の LAM 患者に有用である可能性がある。(米国国立衛生研究所ほかから研究助成を受けた。MILES ClinicalTrials.gov 番号:NCT00414648)

[\(N Engl J Med 2011; 364 : 1595 - 606.\)](#)

Copyright(C)2011 Massachusetts Medical Society.

[一つ前のページに戻る](#)