

(別紙1)

総括研究報告書

課題番号：2020C-5

課題名：小児凝固異常の病態解明と治療評価法の開発に関する研究

主任研究者 (所属施設) 国立成育医療研究センター
(所属・職名 氏名) 小児がんセンター・専門修練医 坂本 淳

(研究成果の要約) 血友病の新規治療薬(Emicizumab)の治療評価法の確立のため、Emicizumab 定期投与患者の長期臨床効果を含めた臨床像および治療効果判定との関連を明らかにした。さらに、日常生活の活動度を評価し、活動度を踏まえた治療評価法を検討した。実施された治療法と長期管理法、さらには長期予後について詳細に評価した。小児凝固異常に関する病態解明のため、ループスアンチコアグラント関連凝固異常症 (LAHPA) に着目し、凝固波形解析などの global assay を用いて凝固解析をした。さらに、血栓症のマーカーとなる凝固因子の変動を視覚的に観察した。血友病を含めた小児凝固異常症の病態解明のために、包括的治療を行える当院でフレッシュな検体を用い凝固能を経時的に評価することと臨床情報を詳細に解析した。

1. 研究目的

新規治療薬である Emicizumab の適切な治療評価法や管理法は不明な点が多い。さらに、長期臨床効果はわからないことが多く、データの蓄積は少ない。また、小児凝固異常症は疾患によっては極めて稀な疾患であり、包括的治療をできる規模の病院でなければ症例は集まらないため、小児の凝固能を研究している施設は皆無である。

本研究の目的は、小児凝固異常の知見を小児病院として国内トップである当センターに集積し、血友病を含めた小児凝固異常症の病態解明のために、包括的治療を行える現場でフレッシュな検体を用い凝固能を経時的に評価することと臨床情報を詳細に解析することである。

2. 研究組織

研究者	所属施設
坂本 淳	国立成育医療研究センター
石黒 精	国立成育医療研究センター

3. 研究成果

本年度の研究は、血友病の新規治療薬 (Emicizumab) の治療評価法と活動度評価法の確立、小児凝固異常に関する病態解明の研究を行なった。

1) 血友病 A に対する Emicizumab の治療効果判定の解析

Emicizumab 定期投与患者の長期臨床効果を含めた臨床像および治療効果判定との関連を明らかにした。日常生活の活動度を踏まえた治療評価法を検討し、長期予後について評価した。

2) 小児凝固異常症をきたす稀少疾患 (LAHPA) に着目し、凝固波形解析などの global assay を用いて評価をした。さらに、血栓症のマーカーとなる凝固因子の変動を視覚的に観察した。

4. 研究内容の倫理面への配慮

本研究は、研究対象者に対する人権擁護上の配慮、不利益・危険性の排除や説明と同意について、人を対象とする医学研究に関する倫理指針を遵守して実施した。