

審査結果の要旨

報告番号	乙 第 2943 号	氏名	弓削 康太郎
審査担当者	主査	谷脇 孝泰	(印)
	副主査	西 昭徳	(印)
	副主査	田中 永一郎	(印)
主論文題目： Ghrelin improves dystonia and tremor in patients with Rett syndrome: A pilot study (グレリンがレット症候群のジストニアと振戦を改善させる：パイロットスタディー)			

審査結果の要旨 (意見)

レット症候群の60%にジストニアを合併し、これはQOLの重大な障害となるが、効果的な治療はなかった。本研究では、レット症候群で低下しているグレリンを補うことで、半数の患者においてジストニアの客観的評価が改善していることを示した。その研究成果はレット症候群におけるジストニアの治療法開発に大きく貢献できるものであり、学位論文として高く評価できる。

論文要旨

ジストニアはレット症候群患者の約60%にみられ、QOLに重大な支障を来す。しかし効果的で標準的な治療はこれまでにない。過去の研究で、特に10歳を超えた多くのレット症候群患者でグレリン値は明らかに減少していると報告されている。これはレット症候群においてグレリンが重要な役割を果たすかもしれないことを示唆していると考えた。

対象は4人のレット症候群患者、うち2人の成人は重度のジストニア、振戦を伴っている。

グレリンは静脈注射で体重あたり3 μ g、1日1回を3日間連続投与、引き続き3週間毎に投与した。客観的評価はレット症候群の重症度評価法である scoring for different clinical features (SDCF)、ジストニアの評価法である Burke-Fahn-Marsden Dystonia Rating Scale (BFMDRS)、主観的評価法である Visual Analog Scale (VAS)で行なった。

SDCF、BFMDRS、自律神経障害、VASは重度のジストニア、振戦を伴っている2人の患者で明らかに改善した。

グレリンはレット症候群患者の錐体外路症状を改善する可能性がある。