

発作性夜間ヘモグロビン尿症 (paroxysmal nocturnal hematuria : PNH)

- ・ PNHは、自然免疫を担う補体が、突然変異により異常を来した赤血球(PNH赤血球)を攻撃することで血管内溶血を引き起こすようになる造血幹細胞疾患である。根治療法は造血幹細胞移植のみであるが、明確な適応基準は設けられていない。
- ・ 診断は血清乳酸脱水素酵素値の上昇や貧血、肉眼的ヘモグロビン尿等の所見から行う。また、わが国における有病率が3.6人/100万人程度の稀な疾患であるため、溶血所見に基づいた重症度分類から中等症以上であると判定された場合に、指定難病として認定される(指定難病62)。
- ・ 抗C5抗体が登場する以前のわが国におけるPNH患者の50%生存期間は25年程度であり、造血不全による感染症や出血、溶血に起因する血栓症が主な死因となる。また、溶血や貧血による易疲労感や倦怠感等は患者QOLの低下を招く。従って、従来のPNHの治療は、血栓症の予防や赤血球濃厚液の輸血、鉄剤の投与などが対症療法(Best supportive care:BSC)として行われてきた。
- ・ 抗C5抗体であるソリリスおよびユルトミスは、補体の活性化を抑制することでPNH赤血球の破壊を防ぐため、血管内溶血の抑制や輸血頻度の減少といった有効性を得られることに加え、PNH患者の予後を改善したとする報告もある。ソリリスが維持期に隔週投与を必要とするのに対し、ユルトミスは血中濃度半減期が延長しているため、8週間隔の投与で治療を行える。

図1: PNHの治療の概略

