

優秀論文分享

蔡政道 老師

前言

結節硬化症(Tuberous Sclerosis Complex)是一種多器官的體顯性遺傳疾病，也由於病程進展其需要多專科整合性追蹤治療，故台灣結節硬化症協會(<http://www.tsc.org.tw/>)於98年委請附設醫院成立台灣第一個TSC整合門診。

除臨床外，此族群亦提供臨床教學及研究模式，如醫學系的暑期研究計劃，提供醫學生對研究有興趣者之媒合平台

此族群於臨床以mammalian target of rapamycin (mTOR) inhibitor治療2-5年後，以評估其改善臉部血管纖維瘤(angiofibroma)前後之成效。

題目：The Efficacy of Everolimus for Facial Angiofibromas in Tuberous Sclerosis Complex Patients Treated for Renal Angiomyolipoma/ Subependymal Giant Cell Astrocytoma.

作者群：Hsiao YP, Gau SY, Wu YT, Wu CT, Wu MH, Tsai JD

發表期刊：Dermatology

網址：doi: 10.1159/000510222

影響係數：5.197

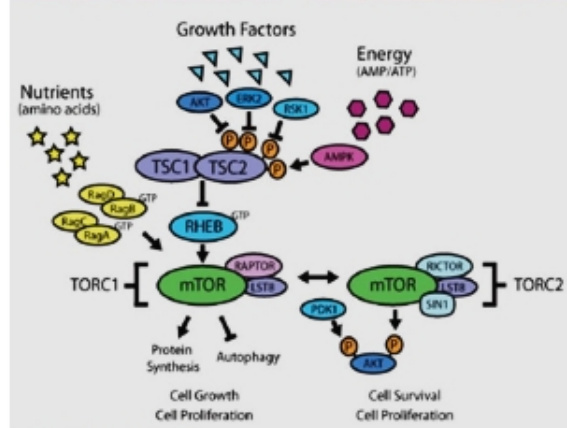
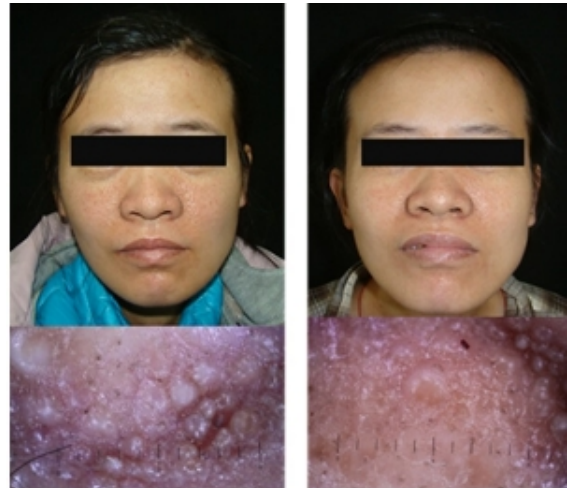
摘要：

目的：本研究的目的是評估口服everolimus(mTOR inhibitor)治療Tuberous Sclerosis Complex (TSC)相關臉部血管纖維瘤的療效。

方法：這項回顧性研究包括TSC患者因室管膜下巨細胞瘤(Subependymal giant cell astrocytoma, SEGAs)和腎臟血管平滑肌脂肪瘤(angioyolipoma, AMLs)而接受口服everolimus治療。我們記錄了面部血管纖維瘤的變化。根據紅斑、平均病變大小、病變密度；和前額、鼻子、臉頰和下巴的受累百分比記錄血管纖維瘤分級量表(Angiofibroma Grading Scale, AGS)指標的變化。記錄在給予口服everolimus之前和之後分數。

結果：本研究納入了21名接受口服everolimus治療的患者。平均年齡為20.5歲（範圍11-44歲，4名男性和17名女性）。口服everolimus的平均劑量為3.6 mg/天。在紅斑(p = 0.001)、平均病變大小(p < 0.001)、病變密度(p < 0.001)和病變百分比(p < 0.001)方面觀察到具有臨床意義和統計學意義的改善。AGS結果的變化在前額(p = 0.001)、鼻子(p < 0.001)、臉頰(p < 0.001)和下巴(p = 0.004)方面具有統計學意義。

結論：以everolimus治療TSC相關的SEGA和AML，亦明顯改善TSC血管纖維瘤。目前的研究證明了口服Everolimus在減少臉部血管纖維瘤方面的功效，顯示了TSC治療方案的益處。



The Angiofibroma Grading Score

	Erythema	Average lesion size	Lesion density	Sum	Percent involvement	Total
Forehead	++	++	==	==	X	
Nose	++	++	==	==	X	
Cheeks	++	++	==	==	X	
Chin	++	++	==	==	X	
						Any pedunculated angiofibroma
						Total Score

Scoring key

Erythema	Average lesion size	Lesion density	Percent involvement
0: skin tone	0: no lesions	0: none	0: no lesions
1: light pink	1: <1mm	1: rare	1: <25
2: dark pink	2: >=1mm to <2mm	2: scattered	2: 25-50
3: light red	3: >=2mm to <3mm	3: crowded	3: 50-75
4: dark red	4: >=3mm	4: confluent	4: 75-100

Nose region extends to nasofacial sulcus and includes the alar groove and skin immediately lateral to nasal ala. Chin is defined by drawing a straight line down from the lateral commissures of the mouth. For any pedunculated lesion, add 10 to the total number. Score range: 0-202.

TOP