

Tsai JD, Wei CC, Yang SH, et al. The effects of everolimus on tuberous sclerosis complex-associated renal angiomyolipoma: a preliminary report. *Nephrology (Carlton)*. 2016. 27.

蔡政道

中山醫學大學附設醫院兒童部

結節性硬化症 (TSC) 是 mammalian target of rapamycin (mTOR) 失調引起多系統良性腫瘤。本研究旨在探討比較以每天口服 everolimus 2.5 或 5.0 毫克治療 TSC-AML 治療效果。

2012 年 7 月至 2015 年 8 月，以口服 everolimus 每日 2.5mg 起始劑量治療 TSC-AML，而劑量每日逐漸增加至 5.0 毫克。以核磁共振影像在起始、12、24 月及 36 個月進行測量 AML 體積變化並測量腎功能。

八例患者入選這項研究分析。以口服 everolimus 治療 AML 體積減少效果達統計學上顯著差異 ($P < 0.05$) (圖一)。在 AML 體積量減少率，4 例以每天 everolimus 2.5 毫克體積減少為 10.5-45.3%，和 4 例 everolimus 5.0 毫克體積減少 40.7-73.1%；兩個組之間的亦達統計學顯著差異 ($p < 0.05$) (圖二)。長期追蹤顯示最初 6-24 個月左右達最大體積減少率，其後續長達 36 個月的期間保持穩定 (圖三、圖四)。

結果證明，口服 everolimus 治療 TSC-AML 是有效的，提供了一種非侵入性的方式來治療 TSC-AML，患者需要維持治療繼續獲得最大效益。

