

0.5 to 19.5). The BMT preparative regimen known for 115 patients (93% of the cohort). Chemotherapy alone was used in 61 boys (53%) with busulfan and cyclophosphamide being the most common regimen (92% of these boys). In the 54 boys receiving a chemotherapy + radiation regimen, 23 boys (43% of this subgroup) receiving a modified radiation protocol with a brain-sparing protocol developed at The University of Minnesota. Stem cell source was known for 119 patients (96% of cohort) while both donor source (related vs. unrelated) and degree of matching was known for 107 patients (86% of cohort). Bone marrow was used in 89% while umbilical cord blood was used in 11%. Related donor transplant was performed in 41% of cases. Carrier status was known for 76 donors (61% of the cohort) and was normal in 95% of this group. Follow-up was known for 121 patients (98% of cohort). As of June 19, 1999, there were 79 survivors (65%) with a median follow-up of 2.8 years (range, 0.4-13.0 years). Details of the neurologic, neuropsychologic, and neuroradiologic outcomes will be presented. With the implementation of disease-specific data capture forms, prospects for an international X-ALD transplant clinical trial will be presented.

## VI. 研究成果の刊行に 関する一覧表

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名(雑誌のときは雑誌名、巻号数、論文名)	刊行年月日	刊 行 書 店 名	執筆者氏名
<p>Mutational analysis and genotype-phenotype correlation of 29 unrelated Japanese patients with X-linked adrenoleukodystrophy (ALD). Arch Neurol 56:295-300.</p>	1999		Takano H, Koike R, Onodera O, Sasaki R and <u>Tsuji S</u> ,
<p>A de novo splice donor site mutation causes in-frame deletion of 14 amino acids in the proteolipid protein in Pelizaeus-Merzbacher disease. Ann Neurol 46:112-115.</p>	1999		Aoyagi Y, Kobayashi H, Tanaka K, Ozawa T, Nitta H and <u>Tsuji S</u> ,

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名（雑誌のときは雑誌名、巻号数、論文名）	刊行年月日	刊 行 書 店 名	執筆者氏名
J Inher Metab Dis Bone marrow transplantation for the treatment of X-linked adrenoleukodystrophy.	2000 (in press)	Society for the Study of Inborn Error of Metabolism	<u>Suzuki Y</u> , Isogai K, Kato S, et al.
J Biol Chem 274:11968-11976 Characterization of the 70-kDa peroxisomal membrane protein, an ATP binding cassette1 transporter.	1999	The American Society for Biochemistry and Molecular Biology	Imanaka T, <u>Suzuki Y</u> , Osumi T et al.
J Human Genet 44:143-147 Prenatal diagnosis of peroxisomal D-3-hydroxyacyl-CoA dehydratase/D-3-hydroxyacyl-CoA dehydrogenase bifunctional protein deficiency.	1999	Japanese Society of Human Genetics	<u>Suzuki Y</u> , Zhang Z, Shimozawa N, et al.
Hum Mutat 13:487-496 Genomic structure and identification of 11 novel mutations of the PEX6 (peroxisome assembly factor-2) gene in patients with peroxisome biogenesis disorders.	1999	Wiley-Liss, Inc.	Zhang Z, <u>Suzuki Y</u> , Shimozawa N, et al.
Hum Mol Genet 8:1077-1083 Nonsense and temperature-sensitive mutations in PEX13 are the cause of complementation group H of peroxisome biogenesis disorders.	1999	Oxford Univ Press	Shimozawa N, <u>Suzuki Y</u> , Zhang Z, et al.
脳と神経 51:295-302 新しいペルオキシソーム病	1999	医学書院	<u>鈴木康之</u> 、下澤伸行 今村 淳、張 忠義 近藤直実

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名（雑誌のときは雑誌名、巻号数、論文名）	刊行年月日	刊行書店名	執筆者氏名
Neurology 52 : 614-616 Adrenoleukodystrophy protein enhances association of very long-chain acyl-coenzyme A synthetase with the peroxisome.	1999		Yamada T, Taniwaki T, Shinnoh N, Uchiyama A, Shimozawa N, Ohyagi Y, Asahara H, Kira J
Neurochem Res 24 : 685-690 Ceramide induces apoptosis in immature cerebellar granule cells in culture.	1999		Taniwaki T, Yamada T, Asahara H, Ohyagi Y, Kira J
生体の科学 50 : 375-376 アドレノロイコジストロフィー	1999		山田 猛

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名（雑誌のときは雑誌名、巻号数、論文名）	刊行年月日	刊 行 書 店 名	執筆者氏名
J. Biol. Chem. 274 (17), Characterization of the 70-kDa peroxisomal membrane protein, an ATP binding cassette transporter.	1999. 4. 23	The American Society for Biochemistry and Molecular Biology, Inc.	<u>Imanaka, T.</u> , Aihara, K., Takano, T., Yamashita, A., Sato, R., Suzuki, Y., Yokota, S., and Osumi, T.
J. Biol. Chem. 274 (50), Formation of peroxisomes from peroxisomal ghosts in a peroxisomal-deficient mammalian cell mutant upon complementation by protein microinjection.	1999. 12. 10	The American Society for Biochemistry and Molecular Biology, Inc.	Yamasaki, M., Hashiguchi, N., Fujiwara, C., <u>Imanaka, T.</u> , Tsukamoto, T., and Osumi, T.
J. Biol. Chem. 275 (5), Peroxisomal membrane protein pmp 47 is essential in the metabolism of middle-chain fatty acid in yeast peroxisomes and is associated with peroxisomal proliferation.	2000. 2. 4	The American Society for Biochemistry and Molecular Biology, Inc.	Nakagawa, T., <u>Imanaka, T.</u> , Morita, M., Ishiguro, K., Yurimoto, H., Yamashita, A., Kato, N., and Sakai, Y.
バイオサイエンスとインダストリー 58 (2), ABCトランスポーター：医薬開発のターゲット(2), 脂質代謝との関連性	2000. 2. 1	バイオインダストリー協会	<u>今中 常雄</u>

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名（雑誌のときは雑誌名、巻・頁数、論文名）	刊行年月日	刊行書店名	執筆者氏名
Blood, 94:4053-4059. Ex vivo generation of CD34+ cells from CD34- hematopoietic cells.	1 9 9 9		Nakamura Y, Ando K, <u>Kato S</u> , et al.
Bone Marrow Transplantation, 24:1065-1071. Peripheral blood stem cell mobilization and apheresis: analysis of adverse events in 94 normal donors.	1 9 9 9		Murata M, Harada M, <u>Kato S</u> , et al.
Bone marrow Transplantation, 24:995-1003. Analysis of 500 bone marrow transplants from unrelated donors (UR-BMT) facilitated by the Japan Marrow Donor Program: confirmation of UR-BMT as a standard therapy for patients with leukemia and aplastic anemia.	1 9 9 9		Kodera Y, Morishima Y, <u>Kato S</u> , et al.
Genes Chromosomes & Cancer, 26:215-220. 11p15 translocations involving the NUP98 gene in childhood therapy-related acute myeloid leukemia/myelodysplastic syndrome.	1 9 9 9		Nishiyama M, Arai Y, Tsunematsu Y <u>Kato S</u> , et al
Americal Journal of Hematology, 62:159-164. Altered expression of CD45 isoforms in differentiation of acute myeloid leukemia.	1 9 9 9		Miyachi H, Tanaka Y, Gondo K, <u>Kato S</u> , et al
Archives of Diseases in Childhood, 80:452-454. Ovarian function after bone marrow transplantation performed before menarch.	1 9 9 9		Matsumoto M, Shinohara O, Ishiguro H, <u>Kato S</u> , et al
J Inher Metab Dis, 22:63-73. Severe complications in Japanese patients with type I Gaucher disease.	1 9 9 9		Ida H, Rennert M, <u>Kato S</u> , et al.

研究成果の刊行に関する一覧表

刊行書籍又は雑誌名（雑誌のときは雑誌名、巻・頁数、論文名）	刊行年月日	刊行書店名	執筆者氏名
Bone Marrow Transplantation, 24:29-34. Role of interleukin-12 in the development of acute graft-versus-host disease in bone marrow transplant patients.	1 9 9 9		Yabe M, Yabe H, Hattori K, <u>Kato S</u> , et al.
Exp Hematol, 27:904-915. Rapid ex vivo expansion of human umbilical cord hematopoietic progenitors using a novel culture system.	1 9 9 9		Kawada H, Ando K, Tsuji T, <u>Kato S</u> , et al
Bone Marrow Transplantation, 24:1229-1233. Umbilical cord blood T lymphocytes are induced to apoptosis after being allo-primed in vitro. 今日の移植、12sup:87-98.	1 9 9 9		Hagihara M, Chargui J <u>Kato S</u> , et al.
同種骨髄移植におけるシクロスポリンMEPCの効果および安全性に関する研究.	1 9 9 9		村田 誠、 林 真、 <u>加藤俊一</u> ,他
日本小児血液学会雑誌、13:170-177. Ph1陽性小児急性リンパ性白血病に対する幹細胞移植：全国登録89症例の解析結果.	1 9 9 9		岡村 純、 松山孝治、 <u>加藤俊一</u> ,他
日本小児科医会会報、18:67-70. 臍帯血幹細胞移植 小児科、1251-1259.	1 9 9 9		<u>加藤俊一</u>
ムコ多糖症に対する骨髄移植. 日本輸血学会雑誌、45:553-556.	1 9 9 9		<u>加藤俊一</u>
わが国における臍帯血移植. 日本臨床血液学会雑誌、40:455-458.	1 9 9 9		<u>加藤俊一</u>
臍帯血移植の現状と展望. 日本産婦人科学会神奈川地方会誌、35:142-144.	1 9 9 9		<u>加藤俊一</u>
東海大学病院における臍帯血バンクと臍帯血採取.	1 9 9 9		堀田知光 岩崎克彦、 安井 功、 <u>加藤俊一</u> ,他



## VII. 班構成員名簿

副腎白質ジストロフィーの治療法開発のための臨床的及び基礎的研究班

班員名簿

	氏 名	所 属	職 名
班 長	辻 省 次	新潟大学脳研究所神経内科	教 授
班 員	鈴木 康 之	岐阜大学医学部小児科	助 教 授
	山 田 猛	九州大学医学部附属脳神経病研究施設神経内科	助 教 授
	加 藤 俊 一	東海大学医学部小児科	助 教 授
	今 中 常 雄	富山医科薬科大学薬学部分子細胞機能学研究室	教 授
事 務 局	辻 省 次	新潟大学脳研究所神経内科 〒951-8585 新潟市旭町通り1-757 TEL 025-227-0664,0663 FAX 025-227-0820	教 授

厚生省 特定疾患対策研究事業  
副腎白質ジストロフィーの治療法開発のための臨床的及び基礎的研究班  
平成11年度研究報告書

発行 平成12年3月31日  
発行所 新潟市旭町通1番地757番地  
新潟大学脳研究所神経内科  
副腎白質ジストロフィーの治療法開発のための  
臨床的及び基礎的研究班事務局  
印刷所 株式会社 第一印刷所