

2. Harada Y, Inoue D, Ding Y, Imagawa J, Doki N, Matsui H, Yahata T, Matsushita H, Ando K, Sashida G, Iwama A, Kitamura T, Harada H. RUNX1/AML1 mutant collaborates with BMI1 overexpression in the development of human and murine myelodysplastic syndromes. *Blood*, 2013, in press.
3. 八幡 崇、他 酸化的 DNA 損傷はヒト造血幹細胞の自己複製能を制限する、第 29 回臨床フリーラジカル会議、2012 年

2. 学会発表

1. 八幡 崇、他 Non-telomeric stem cell aging in hematopoietic regeneration. 第 74 回日本血液学会学術集会、2012 年
2. 八幡 崇、他 免疫不全マウスを用いたヒト造血幹細胞老化メカニズムの解析、第 46 回

日本無菌生物ノートバイオロジー学会総会、
2012 年

3. 八幡 崇、他 酸化的 DNA 損傷はヒト造血幹細胞の自己複製能を制限する、第 29 回臨床フリーラジカル会議、2012 年

H. 知的所有権の取得状況（予定を含む）

1. 特許取得
2. 実用新案登録
3. その他

該当しない

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等克服研究事業（難治性疾患克服研究事業）
先天代謝異常症に対する移植療法の確立とガイドラインの作成に関する研究
分担研究報告書

先天性代謝異常に対する移植前処置の確立

研究分担者 矢部普正¹⁾

研究協力者 矢部みはる¹⁾, 森本 克²⁾, 清水崇史²⁾ 加藤俊一¹⁾

1) 東海大学細胞移植再生医療科, 2) 東海大学小児科

研究要旨

先天性代謝異常に対する同種造血細胞移植の前処置として、静注用ブスルファン (Bu) とシクロフォスファミド (CY) および抗胸腺細胞グロブリン (ATG) の組み合わせの安全性と有効性を検討した。前処置毒性の軽減を期待した CYBuATG 前処置の 2 例は、いずれも晚期拒絶となり、従来の BuCYATG 前処置の 4 例はいずれも生着し、かつ前処置関連毒性も許容範囲であった。

A.研究目的

先天性代謝異常に対する同種造血細胞移植の前処置として、ブスルファン(Bu)とシクロフォスファミド(CY)が用いられてきた。Bu は経口剤が中心であったが、2006 年 10 月に静注用 Bu が承認され、従来用いられてきた BuCY の前処置が、静注用 Bu で安全に施行できるかが問題となった。また、先行する Bu が CY の代謝に影響し、前処置毒性が重症化するとされ、海外からは成人の白血病に対する移植において、順序を入れ替えた CYBu という前処置も報告されて、毒性の低下と成績の向上が示された。

本研究では保険承認された体重別投与量の静注用 Bu と従来の投与量の CY の組み合わせを中心に、さらに拒絶予防として抗胸腺細胞グロブリン (ATG) を加えた方法が、先天性代謝異常の前処置として、安全かつ有効であるかを検証した。

B.研究方法

移植前処置として、静注用 Bu の投与量は 1 回量 : 9kg 未満; 1 mg/kg, 9 kg 以上 16kg 未満; 1.2 mg/kg, 16kg 以上 23kg 以下; 1.1 mg/kg, 23kg 超 34kg 以下; 0.95 mg/kg, 34kg 超; 0.8 mg/kg とし、1 日 4 回、2 時間で点滴静注、CY は 50 mg/kg/ 日を 2 時間点滴で 4 日間、さらに拒絶予防として、ATG を 1.25 mg/kg/ 日を 6 時間点滴で 4 日間投与

した。従来の BuCY の順序で毒性が問題になりそうな全身状態のやや不良な症例は CYBu で行い、全身状態に問題ない症例は BuCY の順序で投与して、安全性と有効性を検討した。GVHD 予防は HLA 一致同胞間移植ではシクロスボリン (CyA) 3 mg/kg/ 日、それ以外のドナーでは短期メソトレキセート (MTX) とタクロリムス (FK506) の併用とした。

(倫理面への配慮)

移植の説明および生着確認の STR 法の説明は患者両親へ文書を用いて行い、文書による同意を得た。

C.研究結果

1. CYBuATG の前処置 2 例の結果

症例 1 : 4 歳のハンター症候群で、HLA-DRB1 不一致の非血縁骨髄を移植した。生着は速やかで、移植後 4 週の骨髄では 93.8% がドナータイプ、輸血からも離脱したが、5 週より血球減少が出現、晚期拒絶となった。非血縁臍帯血による再移植で生着し、生存中である。

症例 2: 6 カ月の I-Cell 病で HLA 一致の非血縁骨髄を移植した。前処置後、生着に伴って毛細血管漏出症候群を合併、気管内挿管、呼吸管理を要した。生着は問題なく、移植後 2 週の骨髄で 97.4%、

32日の骨髓では100%ドナータイプとなり、呼吸管理からも離脱した。その後の経過は順調で一旦退院したが、感染症合併後の移植後157日より晚期拒絶となった。安全な再移植は不可能と判断し、経過観察とした。

2. BuCYATGの前処置4例の結果

症例1：1歳、ハンター症候群、HLA一致同胞骨髓を移植し、問題となる前処置毒性を認めず、生着も順調で退院した。

症例2：1歳、ハンター症候群、HLA一致非血縁骨髓を移植し、問題となる前処置毒性を認めず、急性GVHDがやや遷延し、サイトメガロウイルス感染の再燃を繰り返したが、生着は順調で退院した。

症例3：3歳、ハーラー症候群、HLA一致非血縁骨髓を移植し、問題となる前処置毒性を認めず、生着も順調で退院した。

症例4：9ヶ月、ハーラー症候群、HLA一致同胞骨髓を移植し、問題となる前処置毒性を認めず、生着も順調で退院した。移植後の頭部MRIで脳萎縮の改善を認めた。

以上、晚期拒絶の1例を含め、対象となった6例全例が生存中である。CYBuATGの前処置は、非血縁移植で晚期拒絶が問題となった。

D.考察

先天性代謝異常に対する同種造血細胞移植は、生着不全の頻度が高く、BuとCYを中心とした強力な移植前処置が用いられてきた。しかしながら、Buは乳幼児において重症の副作用の頻度が高く、特に肝中心静脈閉塞症(肝SOS)はしばしば致命的になる。Buの静注用製剤が開発された当初は、門脈血内濃度の相対的低下から肝SOSの減少が期待されたが、わが国の乳児ではむしろ高頻度になったとも言われている。そこで、従来用いられてきたBuCYの前処置が、静注用Buで安全に施行できるかの検証が必要となつた。

今回は主にスイスの研究チームから報告されたreversed CYBu前処置も検証した。2011年までに

reversed CYBu前処置を用いて移植されたムコ多糖症の2例では、一部に混合キメラを認めたものの、最終的には安定した生着が得られていたが、いずれもドナーがHLA一致同胞であったためかもしれない。今回、非血縁移植した2例では、感染症などの誘因があつたにせよ、2例とも晚期拒絶に至っており、reversed CYBu前処置は先天性代謝異常の前処置としては強度不足と考えられた。

一方、BuCYATG前処置は、HLA一致同胞間骨髓移植、非血縁骨髓移植でも安定した生着が得られており、心配された前処置関連毒性もBearman分類でグレード2までの口内炎が3例、肝障害が1例、肺毒性が1例に認めたのみで、グレード3以上の毒性は認めず、容易に対処可能であった。もともと、ムコ多糖症の幼児ではBuの代謝速度が速いことが示されており、前処置関連毒性の低頻度、またreversed CYBu前処置の強度不足になった可能性がある。

E.結論

静注用Buを添付文書通りの体重別投与量で1日4回、4日間投与し、CY 50 mg/kg/日を4日間、さらにATG 1.25 mg/kg/日を4日間組み合わせた前処置は、生後9ヶ月以降の乳幼児で比較的安全投与でき、生着も良好であった。

F.健康危険情報

特記すべき事項なし。

G.研究発表

(発表雑誌名巻号・頁・発行年なども記入)

1. 論文発表

19. Hatanaka K, Fuji S, Ikegame K, Kato R, Wake A, Hidaka M, Ito T, Inoue M, Nagatoshi Y, Takami A, Uike N, Sakamaki H, Yabe H, Morishima Y, Suzuki R, Atsuta Y, Fukuda T. Low incidences of acute and chronic graft-versus-host disease after unrelated bone

- marrow transplantation with low-dose anti-T lymphocyte globulin. *Int J Hematol.* 2012 Dec;96(6):773-80. doi: 10.1007/s12185-012-1209-4. Epub 2012 Nov 7.
20. Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab.* 2012 Sep 7. pii: S1096-7192(12)00342-3. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004. [Epub ahead of print]
21. Kobayashi R, Fujita N, Mitsui T, Iwasaki F, Suzumiya J, Kuroda H, Nishimura R, Sasahara Y, Takeshita Y, Kato K, Okumura H, Sakamaki H, Yabe H, Kawa K, Kato K, Suzuki R. Stem cell transplantation for paediatric patients with non-anaplastic peripheral T-cell lymphoma in Japan. *Br J Haematol.* 2012 Oct;159(1):88-93. doi: 10.1111/bjh.12001. Epub 2012 Aug 9.
22. Yabe M, Masukawa A, Kato S, Yabe H, Nakamura N, Matsushita H. Systemic mastocytosis associated with t(8;21) acute myeloid leukemia in a child: Detection of the D816A mutation of KIT. *Pediatr Blood Cancer.* 2012 Dec 15;59(7):1313-6. doi: 10.1002/pbc.24250. Epub 2012 Jul 27.
23. Shoji T, Bando T, Fujinaga T, Chen F, Kohno M, Yabe M, Yabe H, Date H. Posterior reversible encephalopathy syndrome due to immunosuppressant after living-donor lobar lung transplantation: report of a case. *Gen Thorac Cardiovasc Surg.* 2012 Apr 28. [Epub ahead of print]
- ## 2.学会発表
- ### 国内学会
- #### シンポジウム
1. Yabe H. Stem cell transplantation for bone marrow failure syndrome in children. The 54th Annual Meeting of the Japanese Society of Pediatric Hematology and Oncology. December 2012 Yokohama, Japan.
 2. 矢部普正 造血細胞移植におけるチーム医療 第54回日本小児血液・がん学会学術集会 2012年12月 横浜
 3. 矢部みはる Fanconi 貧血の臨床診断アプローチ 第54回日本小児血液・がん学会学術集会 2012年12月 横浜
 4. 矢部みはる 先天性骨髓不全症候群における遺伝子解析と倫理的諸問題 第54回日本小児血液・がん学会学術集会 2012年12月 横浜
- #### 一般口演
1. M Takata, A Hira, N Suzuki, A Niwa, T Nakahata, H Yabe, M Yabe. ファンコニ貧血経路とアルデヒド代謝の遺伝的相互作用解析 第35回日本分子生物学会年会 2012年12月 福岡
 2. H Yabe, M Yabe, T Morimoto, T Shimizu, T Koike, K Otsubo, A Fukumura, S Kato. Viral monitoring using real-time PCR and virus-specific cellular immunity after stem cell grafting. 第74回日本血液学会学術集会 2012年10月 京都
 3. M Yabe, Y Ohtsuka, K Watanabe, J Inagaki MD, N Yoshida, K Sakashita, H Kakuda, H Yabe, H Kurosawa, K Kudo and A Manabe. The JMML committee of the Japanese Pediatric Leukemia/Lymphoma Study Group.

- Allogeneic HSCT for 30 children with juvenile myelomonocytic leukemia using Bu/Flu/L-PAM regimen 第74回日本血液学会学術集会 2012年10月 京都
4. M Takata, A Hira, H Yabe, K Matsuo, M Yabe. ファンコニ貧血経路とアルデヒド代謝の遺伝的相互作用解析 第71回日本がん学会学術総会 2012年9月 札幌
 5. A Hira, H Yabe, K Matsuo, M Takata, M Yabe. アルデヒドデヒドロゲナーゼ(ALDH2) 遺伝子型による日本人ファンコニ貧血患者の骨髓不全促進効果 第71回日本がん学会学術総会 2012年9月 札幌
- 国際学会
1. Hira A, Yabe H, Matsuo K, Takata M and Yabe M. Variant ALDH2 is associated with accelerated progression of bone marrow failure in Japanese Fanconi Anemia patients. 24th Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium. September, 2012, Denver, USA.
 2. Yabe M, Takahashi Y, Inagaki J, Koh K, Endo M, Kawa K, Kato K, Sakamaki H, Atsuta Y, Yabe H. Hematopoietic stem cell transplantation for Fanconi Anemia patients in Japan: An analysis of the registry data. 24th Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium. September, 2012, Denver, USA.
 3. H. Yabe, M Nagasawa, H Yagasaki, K Horibe, D Tomizawa, A Kikuta, Y Cho, H Goto, M Yabe. Stem Cell Transplantation Committee of Japanese Pediatric Leukemia/Lymphoma Study Group (JPLSG), Isehara, Japan. Recombinant human soluble thrombomodulin is effective in the treatment of early complications after hematopoietic stem cell transplantation in children and adolescents. 38th Annual Meeting of the European Group for Blood and Marrow Transplantation. April 2012, Geneva, Switzerland.
 4. M Yabe, H Yabe, T Shimizu, T Morimoto, T Koike, H Takakura, K Ohtsubo, A Fukumura, T Morimoto, H Yoshida, Y Ohtsuka, M Shiomi, S Kato. A fludarabine-based conditioning for alternative donor hematopoietic stem cell transplantation in inherited bone marrow failure syndrome. 38th Annual Meeting of the European Group for Blood and Marrow Transplantation. April 2012, Geneva, Switzerland.
 5. H. Yabe, M Nagasawa, H Yagasaki, K Horibe, D Tomizawa, A Kikuta, Y Cho, H Goto, M Yabe. Stem Cell Transplantation Committee of Japanese Pediatric Leukemia/Lymphoma Study Group (JPLSG), Isehara, Japan. Recombinant human thrombomodulin is effective in the treatment of early complications after hematopoietic stem cell transplantation in children and adolescents. 23rd Annual Meeting of the International BFM Study Group. April 2012, Santiago Chile.
- H.知的所有権の取得状況（予定を含む）
- 1.特許取得
なし。
 - 2.実用新案登録
なし。
 - 3.その他
なし。

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等克服研究事業（難治性疾患克服研究事業）
先天代謝異常症に対する移植療法の確立とガイドラインの作成に関する研究
分担研究報告書

骨髓移植を受けた I-cell 病患者の長期予後

研究分担者 渡邊順子¹、

研究協力者 大平智子¹、加藤俊一²、矢部普正²、酒井規夫³、大友孝信³、芳野 信¹

1. 久留米大学小児科 2. 東海大学基盤診療学系再生医療科学 3. 大阪大学小児科

研究要旨

ムコリピドーシス II 型（I-Cell 病）の 1 才の女児に対して、HLA 一致の姉より骨髓移植を施行した。移植後神経学的な改善が認められ、集団生活も可能となったが、移植後 10 年を経過した頃から発達の退行と繰り返す呼吸器感染や尿路感染が認められるようになり、20 才にて死亡した。I-Cell 病に対して骨髓移植は有効であるが、その効果は限定的である可能性が示唆された。

A. 研究目的

ムコリピドーシス II 型（I-Cell 病）はライソゾーム酵素上のマンノース 6-リン酸認識マーカーの合成における第 1 段階に関係する酵素、N-アセチルグルコサミン-1-フオスフォトランスクエラーゼ (GlcNAc phosphotransferase) が欠損する常染色体劣性遺伝性疾患である。本疾患ではマンノース 6-リン酸受容体を介した、ゴルジ装置からライソゾームへのライソゾームのマトリックス酵素の輸送が障害される結果、複数のライソゾーム酵素の機能障害をきたす。全身諸臓器への蓄積により、多発性骨異形成症、精神運動発達遅滞、肝脾腫、心合併症などをきたすが、有効な根治治療法はなく、進行性の予後不良疾患である。我々は 1 才時に骨髓移植を施行し、その後約 20 年間に渡りフォローしました I-Cell 症例の経過を報告する。

B. 研究方法、C. 研究結果

20 歳女性、当院初診時 8 生月。母体の軽度妊娠中毒あるも、在胎 38 週 3 日、特に合併症なく出生した。Apgar score は 8/9 であり、出生時体重 2278g、身長 46cm、頭囲 30cm、胸囲 28cm と、軽度の胎児発育遅延を認めた。5 ヶ月時に定頸可能であったが、その後発達の獲得を認めず、7 ヶ月頃より I-Cell 病で亡くなった長姉と顔貌が似てきたことから、同疾患を疑われ 8 ヶ月時に前医より当院紹介となる。

家族歴：長姉が I-Cell 病罹患。2 歳 11 ヶ月に心嚢液貯留後に死亡。両親に血縁関係なく、健常な姉（次姉）が一人。

初診時(8か月時)現症：体重 7265g (M-1SD)、身長 69.6cm (M±0SD)、頭囲 41.2cm (M-1SD)。特異顔貌（眼球突出、後頭部偏平、鼻根部平低）、腰椎の側弯・前弯、股関節過開排、手指関節拘縮を認めた。肝臓は右乳腺上で 5 cm、脾臓は左季肋下に 1-2 cm 触知した。

深部腱反射は正常範囲内であった。定頸はほぼ完成していたが、寝返り、独座は獲得できていなかった。引き起こし時の上肢の筋緊張は正常ないし軽度低下していた。

経過：血清中のライソゾーム酵素の活性が上昇しており（Table. 1）、骨レントゲン写、臨床症状、家族歴からムコリピドーシス II-型と臨床的に診断した。また、GNPTAB； N-アセチルグルコサミン-1-フオスフォトランスクフェラーゼ（GlcNAc phosphotransferase）遺伝子解析の結果、c. 310C>T 1 (p. Q104X) 、 c. 3565C>T (p. R1189X) の複合ヘテロ接合体であることが確認された。診断確定後、HLA typing が一致した健常児である次姉をドナーとして、1歳2か月時に同種骨髄移植を行った。1歳2ヶ月時に健常同胞である次姉をドナーとして骨髄移植を施行した。その後、1歳7ヶ月より寝返り、3歳頃から独座可能となったが、11歳頃より徐々に独座ができなくなり、発達の退行を認め、長期臥床で全介助状態となった。同時期より呼吸器感染、尿路感染による入院を繰り返すようになり、12歳時より膀胱直腸障害のため間欠的導尿、浣腸を必要とした。また気道・肺病変および心弁膜症のため、在宅酸素療法（11歳～）、心不全に対する薬物療法を必要とするようになった。14歳4ヶ月時に呼吸不全のため約1年間入院、気管内挿管・抜管を繰り返し、睡眠時無呼吸の増悪もありBIPAPによる補助呼吸を導入した。その後も時折呼吸器感染にて入退院を繰り返し、20歳1ヶ月時に肺炎、ARDSにより死亡した。末梢血リンパ球での GNPT 活性は、4週後には健常コントロールの平均値を超

え、22週後にはコントロールの約2.3倍に達していた。

末梢血リンパ球での α -マンノシダーゼ、 β -ヘキソミニダーゼ、 β -グルコサミニダーゼの活性は、BMT2週間後にコントロールと同等の値に達し、6週目まで活性を維持していた。一方、ほかの2種類の酵素活性は、低値のままであった。一方、血清の酵素活性は、 β -グルコサミニダーゼのみが活性が低下していたが、他の4種類の酵素活性は、測定した移植後6週間までのデータでは変化は認められず高い活性のままだった（Table. 2）。本症例は免疫抑制剤内服を数年間、必要としたが、BMT に伴う拒絶反応および免疫能低下に伴う合併症は認めなかった。

循環器合併症については、4歳2ヶ月時の心機能は正常であった。8歳9ヶ月時は、心機能は正常を保っていたものの、軽度の弁逆流症（僧帽弁、三尖弁、大動脈弁）を認めた。10歳8ヶ月時には、心室壁軽度肥厚および大動脈弁と僧帽弁の弁肥厚および僧帽弁逸脱症を確認された。その後は、14歳頃から重症の呼吸器感染症を反復するようになり、それと同時に、徐々に新機能低下と弁逆流症が進行した。20歳1ヶ月時には、心拍出量は55%に低下し、心室中隔壁の肥厚、心嚢液貯留を認めた。

本症例は2歳くらいをピークに身長の増加は認めておらず、骨病変の改善は認めなかった。移植後約15年経過した時点で骨髄でのドナー細胞の生着率は95%と高率であったにも関わらず、移植10年後くらいより、発達の退行と健康状態の悪化を認めた。

D.考察

I-cell 病に対する BMT 施行例は症例数が少なく、その有効性は明らかではない。今泉らの症例では発達レベルは維持したもの、反復性の呼吸器感染症のため移植後 5 年半の経過で亡くなっている。また、Grewal らは、7 年 5 か月の経過観察の中で、循環器合併症の増悪を認めず、緩除ながら精神運動発達があると報告している。我々の症例は、1 歳 2 か月で BMT をを行い、20 歳までの経過を追った最長期観察例である。運動発達、言語発達は、移植後緩徐ながら獲得できていたが、10 代前半から徐々に退行を認めた。臓器合併症については、弁膜症、心筋肥厚が出現し、呼吸器感染症に伴い肺性心、右心不全の増悪を繰り返した。しかし、BMT により末梢血のリンパ球 GNPT 活性は上昇しており、BMT を受けなかった姉との比較においてより高い発達段階に到達することが可能であったことから、BMT は生命予後および QOL の改善につな

がったと考えられる。

E.結論

骨髓移植を受けなかった同胞例が幼児期早期に亡くなった臨床経過と比較し、骨髓移植は生命予後および QOL の改善は効果があったと考える。一方で緩徐な経過ながらも神経学的退行や臓器合併症が進行したことから、骨髓移植の効果は限定的である可能性も示唆された。

【謝辞】 血中リソゾーム酵素活性をしていただいた岐阜大学小児科、折居忠夫先生、祐川和子先生、GlcNAc-1-phosphotransferase 活性をしていただいた北海道大学癌研生化学、賀佐伸省先生、GTPTAB 遺伝子変異解析をしていただいた大阪大学医学部小児科、酒井規夫先生、大友孝信先生のご協力に深謝する。

Table. 1 血清中ライソゾーム酵素活性 (診断時)

4MU- β -Glucuronidase	304.9 nmol/mg/hr	(対照 3.7 ± 2.8)
4MU- β -Galactosidase	68.9 nmol/mg/hr	(対照 5.4 ± 2.3)
4MU- α -Mannosidase	749.2 nmol/mg/hr	(対照 14.0 ± 2.8)
4MU-N-Acetyl- β - glucosaminidase	2219 nmol/mg/hr	(対照 248 ± 77)

リンパ球	-1ヶ月	2週後	4週後	6週後	対照
4MU-β-Galactosidase	35	27	49	45	131 ±27
β-Glucuronidase	19	11	18	16	38 ± 6
α-Mannnosidase	11	40	53	47	53 ±13
β-Hexominidase	212	593	493	501	722 ±160
β-glucosaminidase	0.3	0.7	1.7	0.7	1.3 ±0.7
血清					
4MU-β-Galactosidase	74	151	82	74	5 ±2
β-Glucuronidase	281	461	596	460	4 ±3
α-Mannnosidase	640	1178	1304	975	14 ±3
β-Hexominidase	2380	3286	3320	3440	248 ±77
β-glucosaminidase	0.6	0.3	0.3	0.2	0.8 ±0.5
(nmol/mg/hr)					

Table.2 骨髄移植によるライソゾーム酵素活性の推移

F. 健康危険情報

なし

9999:1-6

G. 研究発表

1) 論文発表

- Higashimoto K, Nakabayashi K, Yatsuki H, Yoshinaga H, Jozaki K, Okada J, Watanabe Y, Aoki A, Shiozaki A, Saito S, Koide K, Mukai T, Hata K, Soejima H. Aberrant methylation of H19-DMR acquired after implantation was dissimilar in soma versus placenta of patients with Beckwith-Wiedemann syndrome. *Am J Med Genet A.* 2012 May 10. doi: 10.1002/ajmg.a.35335. [Epub ahead of print] PubMed PMID:22577095. *Am J Med Genet A.* 2012 Part A

- Ihara K, Yoshino M, Hoshina T, Harada N, Kojima-Ishii K, Makimura M, Hasegawa Y, Watanabe Y, Yamaguchi S, Hara T. Coagulopathy in Patients With Late-Onset Ornithine Transcarbamylase Deficiency in Remission State: A Previously Unrecognized Complication. *Pediatrics.* 2012 Dec 3. [Epub ahead of print]
- Higashimoto K, Maeda T, Okada J, Ohtsuka Y, Sasaki K, Hirose A, Nomiyama M, Takayanagi T, Fukuzawa R, Yatsuki H, Koide K, Nishioka K, Joh K, Watanabe Y, Yoshiura K, Soejima H. Homozygous deletion of *DIS3L2* exon 9 due to

- non-allelic homologous recombination between LINE-1s in a Japanese patient with Perlman syndrome. *European Journal of Human Genetics.* in press
4. Miyake N, Yano S, Sakai C, Hatakeyama H, Matsushima Y, Shiina M, Watanabe Y, Bartley J, Abdenur JE, Wang RY, Chang R, Tsurusaki Y, Doi H, Nakashima M, Saitsu H, Ogata K, Goto YI, Matsumoto N. Source. Mitochondrial Complex III Deficiency Caused by a Homozygous UQCRC2 Mutation Presenting with Neonatal-Onset Recurrent Metabolic Decompensation. *Hum Mutat.* in press.
5. Kido J, Nakamura K, Mitsubuchi H, Ohura T, Takayanagi M, Matsuo M, Yoshino M, Shigematsu Y, Yorifuji T, Kasahara M, Horikawa R, Endo F. Long-term outcome and intervention of urea cycle disorders in Japan. *J Inherit Metab Dis.* 2012 Sep;35(5):777-85. 1
6. Hara M, Inokuchi T, Taniwaki T, Otomo T, Sakai N, Matsuishi T, Yoshino M. An adult patient with mucolipidosis III alpha/beta presenting with parkinsonism. *Brain Dev.* 2012 Aug 17. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 22906612.
7. Mitobe S, Togawa T, Tsukimura T, Kodama T, Tanaka T, Doi K, Noiri E, Akai Y, Saito Y, Yoshino M, Takenaka T, Saito S, Ohno K, and Sakuraba H: Mutant α -galactosidase A with M296I does not cause elevation of the plasma globotriaosylsphingosine level. *Molecular Genetics and Metabolism,* 2012 Jul 14. [Epub ahead of print]
- 2) 学会発表
-国際学会-
Annual Symposium of the Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism 2012.8.30-9.2 (Birmingham)
Two cases of neonatal onset type II citrullinemia diagnosed by urine organic acids based newborn screening. Watanabe Y, Tashiro K, Aoki K, Seki Y, Yanagi T, Okada J, Mizuochi T, Inokuchi T, Yoshino M, Matsuishi T.
- The American Society of Human Genetics, International Congress of Human Genetics, 62nd Annual Meeting Montreal, Canada, November 6-10, 2012**
Two cases of neonatal onset type II citrullinemia diagnosed by urine organic acids based newborn screening. Watanabe Y, Tashiro K, Aoki K, Inokuchi T, Seki Y, Yanagi T, Mizuochi T, Yoshino M, Matsuishi T.
- H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）
1. 特許取得 なし
 2. 実用新案登録 なし
 3. その他 なし

III. 研究成果の刊行に関する一覧表

○研究成果の発表

平成24年度に発表された研究成果は以下のとおりである。

◎は本研究班の課題内容、○は密接に関係する内容である。

[学術雑誌等での公表]

加藤 俊一

1. Shinzato A, Tabuchi K, Atsuta Y, Inoue M, Inagaki J, Yabe H, Koh K, Kato K, Ohta H, Kigasawa H, Kitoh T, Ogawa A, Takahashi Y, Sasahara Y, Kato S, Adachi S. PBSCT Is Associated With Poorer Survival and Increased Chronic GvHD Than BMT in Japanese Paediatric Patients With Acute Leukaemia and an HLA-Matched Sibling Donor. *Pediatr Blood Cancer*. 2013 Mar 19. doi: 10.1002/pbc.24524. [Epub ahead of print]
2. Kai S, Wake A, Okada M, Kurata M, Atsuta Y, Ishikawa J, Nakamae H, Aotsuka N, Kasai M, Misawa M, Taniguchi S, Kato S. Double-unit cord blood transplantation after myeloablative conditioning for patients with hematologic malignancies: A multicenter phase II study in Japan. *Biol Blood Marrow Transplant*. 2013 Feb 14. doi:pii: S1083-8791(13)00083-9. 10.1016/j.bbmt.2013.02.011. [Epub ahead of print]
3. Sakai D, Nakamura Y, Nakai T, Mishima T, Kato S, Grad S, Alini M, Risbud MV, Chan D, Cheah KS, Yamamura K, Masuda K, Okano H, Ando K, Mochida J. Exhaustion of nucleus pulposus progenitor cells with ageing and degeneration of the intervertebral disc. *Nat Commun*. 2012;3:1264. doi: 10.1038/ncomms2226. PMID:23232394[PubMed - in press]
4. Kanda J, Ichinohe T, Kato S, Uchida N, Terakura S, Fukuda T, Hidaka M, Ueda Y, Kondo T, Taniguchi S, Takahashi S, Nagamura-Inoue T, Tanaka J, Atsuta Y, Miyamura K, Kanda T. Unrelated cord blood transplantation vs related transplanatation with HLA-1 antigen mismatch in the graft-versus-host direction. *Leukemia* 2013 Feb;27(2):286-94.
5. Yabe M, Masukawa A, Kato S, Yabe H, Nakamura N, Matsushita H. Systemic mastocytosis associated with t(8;21) acute myeloid leukemia in a child: Detection of the D816 mutation of KIT. *Pediatr Blood Cancer*, 2012 Dec 15;59(7):1313-6.
6. ◎Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II a nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab*. 2012 Nov;107(3):513-20.
7. ◎加藤俊一. 造血細胞移植が有効な先天代謝異常症. 小児内科 2012 Oct;44(10):1598-1604.
8. Hyodo H, Ishiguro H, Tomita Y, Takakura H, Koike T, Shimizu T, Morimoto T, Yabe H, Yabe M, Kojima S, Shiraishi K, Minemura T, Kato S. Decreased serum testosterone levels in long-term adult survivors with fatty liver after childhood stem cell transplant. *Biol Blood Marrow Transplant*. 2012 Jul;18(7):1119-27.
9. Koike T, Yanagimachi N, Ishiguro H, Yabe H, Yabe M, Morimoto T, Shimizu T, Takakura H, Kato S. High incidence of radiation-induced cavernous hemangioma in long-term survivors who underwent hematopoietic stem cell transplantation with radiation therapy during childhood or adolescence. *Biol Blood Marrow Transplant*. 2012 Jul;18(7):1090-8,
10. Matsumura T, Kami M, Yamaguchi T, Yuji K, Kusumi E, Taniguchi S, Takahashi S, Okada M, Sakamaki H, Azuma H, Takanashi M, Kodo H, Kai S, Inoue-Nagamura T, Kato K, Kato S. Allogeneic cord blood transplantation for adult acute lymphoblastic leukemia: retrospective survey involving 256 patients in Japan. Allogeneic cord blood transplantation for adult acute lymphoblastic leukemia: retrospective survey involving 256 patients in Japan. *Leukemia*. 2012 Jul;26(7):1482-6.
11. Yabe M, Shimizu T, Morimoto T, Koike T, Takakura H, Tsukamoto H, Muroi K, Oshima K, Asami K, Takata M, Yamashita T, Kato S, Yabe H. Matched sibling donor stem cell transplantation for Fanconi anemia patients with T-cell somatic mosaicism. *Pediatr Transplant*. 2012 Jun 16(4):340-5.

足立 壮一

1. ○Shinzato A, Tabuchi K, Atsuta Y, Inoue M, Inagaki J, Yabe H, Koh K, Kato K, Ohta H, Kigasawa H, Kitoh T, Ogawa A, Takahashi Y, Sasahara Y, Kato SI, **Adachi S**. PBSCT Is Associated With Poorer Survival and Increased Chronic GvHD Than BMT in Japanese Paediatric Patients With Acute Leukaemia and an HLA-Matched Sibling Donor. *Pediatr Blood Cancer*. 2013 Mar 19. doi: 10.1002/pbc.24524. [Epub ahead of print]
2. ○Shibata M, Kato T, Awaya T, **Adachi S**, Heike T. Chronic immune-mediated axonal polyneuropathy following umbilical cord blood transplant for childhood-onset cerebral adrenoleukodystrophy. *Pediatr Transplant*. 2012 Dec;16(8):E388-91. doi: 10.1111/j.1399-3046.2012.01748.x. Epub 2012 Jun 21.
3. ○Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, **Kato S**. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II a nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab*. 2012 Nov;107(3):513-20.
4. Imamura T, Iwamoto S, Kanai R, Shimada A, Terui K, Osugi Y, Kobayashi R, Tawa A, Kosaka Y, Kato K, Hori H, Horibe K, Oda M, **Adachi S**; Japan Association of Childhood Leukaemia Study. Outcome in 146 patients with paediatric acute myeloid leukaemia treated according to the AML99 protocol in the period 2003-06 from the Japan Association of Childhood Leukaemia Study. *Br J Haematol*. 2012 Oct;159(2):204-10. doi: 10.1111/bjh.12030. Epub 2012 Aug 28.
5. Morishima T, Nomura A, Saida S, Watanabe K, Yagi H, Matsumoto M, Fujimura Y, Heike T, Nakahata T, **Adachi S**. Pediatric idiopathic TTP diagnosed with decreased ADAMTS13 activity. *Pediatr Int*. 2012 Jun;54(3):422-3.

猪股 裕紀洋

1. ○Genda T, Ichida T, Sakisaka S, Sata M, Tanaka E, Inui A, Egawa H, Umeshita K, Furukawa H, Kawasaki S, **Inomata Y**. Waiting list mortality of patients with primary biliary cirrhosis in the Japanese transplant allocation system. *J Gastroenterol*. 2013 Mar 12. [Epub ahead of print]
2. Ohya Y, Isono K, Obayashi K, Hayashida S, Lee KJ, Yamamoto H, Takeichi T, Asonuma K, Ando Y, **Inomata Y**. Peritransplant Gastrointestinal Symptoms in Familial Amyloidotic Polyneuropathy. *Exp Clin Transplant*. 2013 Feb 22. doi: 10.6002/ect.2012.0257. [Epub ahead of print]
3. ○Takeichi T, Asonuma K, Yamamoto H, Ohya Y, Okumura K, Lee KJ, **Inomata Y**. Liver Transplant From an ABO-Incompatible and Hepatitis C Antibody-Positive but an HCV-RNA Negative Living Donor in a Familial Amyloid Polyneuropathy Patient. *Exp Clin Transplant*. 2012 Nov 22. [Epub ahead of print]
4. ○Takeichi T, Narita Y, Lee KJ, Yamamoto H, Asonuma K, **Inomata Y**. Sclerosing encapsulating peritonitis after living donor liver transplantation: a case successfully treated with tamoxifen: report of a case. *Surg Today*. 2012 Oct 26.
5. ○Harada N, Shirabe K, Soejima Y, Taketomi A, Yoshizumi T, Asonuma K, **Inomata Y**, Maehara Y. Intrahepatic artery pseudoaneurysm associated with a metallic biliary stent after living donor liver transplantation: report of a case. *Surg Today*. 2012 Aug 23.
6. ○Obayashi K, Ueda M, Oshima T, Kawahara S, Misumi Y, Yamashita T, Jono H, Yazaki M, Kametani F, Ikeda S, Ohya Y, Asonuma K, **Inomata Y**, Ando Y. Pathological changes long after liver transplantation in a familial amyloidotic polyneuropathy patient. *BMJ Case Rep*. 2012 Aug 18;2012. doi:pii: bcr2012006593. 10.1136/bcr-2012-006593.
7. ○Asonuma K, Ohya Y, Isono K, Takeichi T, Yamamoto H, Lee KJ, Okumura K, Ando Y, **Inomata Y**. Current state of domino transplantation in Japan in terms of surgical procedures and de novo amyloid neuropathy. *Amyloid*. 2012 Jun;19 Suppl 1:75-7.
8. ○Honda M, Takeichi T, Ohya Y, Okumura K, Lee KJ, Yamamoto H, Asonuma K, **Inomata Y**. A thoracoabdominal approach in revision of the hepatic hilum after left lobe living donor liver transplantation. *J Pediatr Surg*. 2012 Mar;47(3):e13-6.

上本 伸二

1. ○Kurita A, Kodama Y, Minami R, Sakuma Y, Kuriyama K, Tanabe W, Ohta Y, Maruno T, Shiokawa M, Sawai Y, Uza N, Yazumi S, Yoshizawa A, **Uemoto S**, Chiba T. Endoscopic stent placement above the intact sphincter of Oddi for biliary strictures after living donor liver transplantation. *J Gastroenterol.* 2013 Jan 17. [Epub ahead of print]
2. ○Aini W, Miyagawa-Hayashino A, Ozeki M, Tsuruyama T, Tamaki K, **Uemoto S**, Haga H. Frequent hepatocyte chimerism in long-term human liver allografts independent of graft outcome. *J Gastroenterol.* 2013 Jan 17. [Epub ahead of print]
3. ○Hori T, Egawa H, Kaido T, Ogawa K, **Uemoto S**. Liver Transplantation for Primary Hyperoxaluria Type 1: A Single-center Experience during Two Decades in Japan. *World J Surg.* 2012 Nov 28. [Epub ahead of print]
4. ○Fukuda A, Ogura Y, Kanazawa H, Mori A, Kawaguchi M, Takada Y, **Uemoto S** Living donor liver transplantation for Budd-Chiari syndrome with hepatic inferior vena cava obstruction after open pericardial procedures. *Surg Today.* 2012 Nov 28. [Epub ahead of print]
5. ○Takada Y, **Uemoto S**. Living donor liver transplantation for hepatitis C. *Surg Today.* 2012 Oct 6. [Epub ahead of print]
6. ○Egawa H, Nakanuma Y, Maehara Y, **Uemoto S**, Eguchi S, Sato Y, Shirabe K, Takatsuki M, Mori A, Yamamoto M, Tsubouchi H. Disease recurrence plays a minor role as a cause for retransplantation after living-donor liver transplantation for primary biliary cirrhosis: A multicenter study in Japan. *Hepatol Res.* 2012 Sep 20. doi: 10.1111/j.1872-034X.2012.01108.x. [Epub ahead of print]
7. ○Tsuruyama T, Okamoto S, Fujimoto Y, Yoshizawa A, Yoshitoshi E, Egawa H, Nakase H, Aini W, Miyao M, Tamaki K, Yamabe H, Haga H, **Uemoto S**. Histology of Intestinal Allografts: Lymphocyte Apoptosis and Phagocytosis of Lymphocytic Apoptotic Bodies Are Diagnostic Findings of Acute Rejection in Addition to Crypt Apoptosis. *Am J Surg Pathol.* 2012 Sep 28. [Epub ahead of print]
8. ○Hori T, Gardner LB, Chen F, Baine AM, Hata T, **Uemoto S**, Nguyen JH. Liver graft pretreated in vivo or ex vivo by γ -aminobutyric acid receptor regulation. *J Surg Res.* 2012 Sep 15. doi:pii: S0022-4804(12)00799-8. 10.1016/j.jss.2012.08.055. [Epub ahead of print]
9. ○Shehata MR, Yagi S, Okamura Y, Iida T, Hori T, Yoshizawa A, Hata K, Fujimoto Y, Ogawa K, Okamoto S, Ogura Y, Mori A, Teramukai S, Kaido T, **Uemoto S**. Pediatric Liver Transplantation Using Reduced and Hyper-Reduced Left Lateral Segment Grafts: A 10-Year Single-Center Experience. *Am J Transplant.* 2012 Sep 20. doi: 10.1111/j.1600-6143.2012.04268.x. [Epub ahead of print]
10. ○Hori T, Kaido T, Tamaki N, Toshimitsu Y, Ogawa K, **Uemoto S**. An adult with primary hyperoxaluria type 1 regrets not receiving preemptive liver transplantation during childhood: report of a case. *Surg Today.* 2012 Aug 25. [Epub ahead of print]
11. ○Hata T, **Uemoto S**, Fujimoto Y, Murakami T, Tateno C, Yoshizato K, Kobayashi E. Transplantation of Engineered Chimeric Liver With Autologous Hepatocytes and Xenobiotic Scaffold. *Ann Surg.* 2012 Jun 11. [Epub ahead of print]
12. ○Ueda Y, Kaido T, Ogura Y, Ogawa K, Yoshizawa A, Hata K, Fujimoto Y, Miyagawa-Hayashino A, Haga H, Marusawa H, Teramukai S, **Uemoto S**, Chiba T. Pretransplant serum hepatitis C virus RNA levels predict response to antiviral treatment after living donor liver transplantation. *PLoS One.* 2013;8(3):e58380.
13. ○Takahashi N, Wada H, Usui M, Kobayashi T, Habe-Ito N, Matsumoto T, **Uemoto S**, Nobori T, Isaji S. Behavior of ADAMTS13 and Von Willebrand factor levels in patients after living donor liver transplantation. *Thromb Res.* 2013 Mar;131(3):225-9.
14. ○Nagai K, Yagi S, **Uemoto S**, Tolba RH. Surgical procedures for a rat model of partial orthotopic liver transplantation with hepatic arterial reconstruction. *J Vis Exp.* 2013 Mar 7;(73). doi: 10.3791/4376.
15. ○Hori T, Gardner LB, Chen F, Baine AM, Hata T, Herdt AR, **Uemoto S**, Eckman CB, Nguyen JH. Hepatic arterial reconstruction for orthotopic liver transplantation in the rat. *Hepatol Res.* 2012 Nov;42(11):1131-40.
16. ○Kaido T, Mori A, Ogura Y, Ogawa K, Hata K, Yoshizawa A, Yagi S, **Uemoto S**. Pre- and perioperative factors affecting infection after living donor liver transplantation. *Nutrition.* 2012

- Nov;28(11-12):1104-8. doi: 10.1016/j.nut.2012.02.007.
17. ○ Miyagawa-Hayashino A, Yoshizawa A, Uchida Y, Egawa H, Yurugi K, Masuda S, Minamiguchi S, Maekawa T, **Uemoto S**, Haga H. Progressive graft fibrosis and donor-specific human leukocyte antigen antibodies in pediatric late liver allografts. *Liver Transpl*. 2012 Nov;18(11):1333-42. doi: 10.1002/lt.23534.
 18. ○ Takada Y, Suzukamo Y, Oike F, Egawa H, Morita S, Fukuhara S, **Uemoto S**, Tanaka K. Long-term quality of life of donors after living donor liver transplantation. *Liver Transpl*. 2012 Nov;18(11):1343-52. doi: 10.1002/lt.23509.
 19. ○ Murase K, Chihara Y, Takahashi K, Okamoto S, Segawa H, Fukuda K, Tanaka K, **Uemoto S**, Mishima M, Chin K. Use of noninvasive ventilation for pediatric patients after liver transplantation: Decrease in the need for reintubation. *Liver Transpl*. 2012 Oct;18(10):1217-25. doi: 10.1002/lt.23491.
 20. ○ Aini W, Miyagawa-Hayashino A, Tsuruyama T, Hashimoto S, Sumiyoshi S, Ozeki M, Tamaki K, **Uemoto S**, Haga H. Telomere shortening and karyotypic alterations in hepatocytes in long-term transplanted human liver allografts. *Transpl Int*. 2012 Sep;25(9):956-66. doi: 10.1111/j.1432-2277.2012.01523.x.
 21. ○ Yamashiki N, Sugawara Y, Tamura S, Nakayama N, Oketani M, Umeshita K, **Uemoto S**, Mochida S, Tsubouchi H, Kokudo N. Outcomes after living donor liver transplantation for acute liver failure in Japan: results of a nationwide survey. *Liver Transpl*. 2012 Sep;18(9):1069-77.
 22. ○ Sakamoto S, Masuda S, Matsuura M, Nakase Y, Chiba T, Tsuruyama T, Haga H, **Uemoto S**. The challenge of acute rejection in intestinal transplantation. *Pediatr Surg Int*. 2012 Aug;28(8):855-9.
 23. ○ Abdelaziz O, Hosny K, Amin A, Emadeldin S, **Uemoto S**, Mostafa M. Endovascular management of early hepatic artery thrombosis after living donor liver transplantation. *Transpl Int*. 2012 Aug;25(8):847-56. doi: 10.1111/j.1432-2277.2012.01509.x.
 24. ○ Sakamoto S, Shigeta T, Fukuda A, Tanaka H, Nakazawa A, Nosaka S, **Uemoto S**, Kasahara M. The Role of Liver Transplantation for Congenital Extrahepatic Portosystemic Shunt. *Transplantation*. 2012 Jun 27;93(12):1282-7. doi: 10.1097/TP.0b013e318250c157. Review.
 25. ○ Hori T, Ogura Y, Ogawa K, Kaido T, Segawa H, Okajima H, Kogure T, **Uemoto S**. How transplant surgeons can overcome the inevitable insufficiency of allograft size during adult living-donor liver transplantation: strategy for donor safety with a smaller-size graft and excellent recipient results. *Clin Transplant*. 2012 May-Jun;26(3):E324-34. doi: 10.1111/j.1399-0012.2012.01664.x.
 26. ○ Obara H, Matsuno N, Enosawa S, Shigeta T, Huai-Che H, Hirano T, Muto M, Kasahara M, **Uemoto S**, Mizunuma H. Pretransplant screening and evaluation of liver graft viability using machine perfusion preservation in porcine transplantation. *Transplant Proc*. 2012 May;44(4):959-61.
 27. ○ Yagi S, Iida T, Hori T, Taniguchi K, Nagahama M, Isaji S, **Uemoto S**. Effect of portal haemodynamics on liver graft and intestinal mucosa after small-for-size liver transplantation in swine. *Eur Surg Res*. 2012;48(3):163-70. doi: 10.1159/000338622.

遠藤 文夫

1. ○ Kido J, Nakamura K, Matsumoto S, Mitsubuchi H, Ohura T, Shigematsu Y, Yorifuji T, Kasahara M, Horikawa R, **Endo F**. Current status of hepatic glycogen storage disease in Japan: clinical manifestations, treatments and long-term outcomes. *J Hum Genet*. 2013 Mar 14. doi: 10.1038/jhg.2013.17. [Epub ahead of print]
2. ○ Kido J, Nakamura K, Mitsubuchi H, Ohura T, Takayanagi M, Matsuo M, Yoshino M, Shigematsu Y, Yorifuji T, Kasahara M, Horikawa R, **Endo F**. Long-term outcome and intervention of urea cycle disorders in Japan. *J Inherit Metab Dis*. 2012 Sep;35(5):777-85. doi: 10.1007/s10545-011-9427-0.
3. Okumura K, Shinohara M, **Endo F**. Capability of tissue stem cells to organize into salivary rudiments. *Stem Cells Int*. 2012;2012:502136.

奥山 虎之

1. ○Okuyama T, Yotsumoto J, Funato Y. Survey of second-trimester maternal serum screening in Japan. *J Obstet Gynaecol Res*. 2013 Mar 20. doi: 10.1111/jog.12015. [Epub ahead of print]
2. ○Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab*. 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.
3. ○奥山虎之、本田和宏. 早期治療のための新生児スクリーニング. 小児内科 2012 Oct;44(10):1636-1638.
4. ○Hwu WL, Okuyama T, But WM, Estrada S, Gu X, Hui J, Kosuga M, Lin SP, Ngu LH, Shi H, Tanaka A, Thong MK, Wattanasirichaigoon D, Wasant P, McGill J. Current diagnosis and management of mucopolysaccharidosis VI in the Asia-Pacific region. *Mol Genet Metab*. 2012 Sep;107(1-2):136-44. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.07.019.

笠原 群生

1. ○Kido J, Nakamura K, Matsumoto S, Mitsubuchi H, Ohura T, Shigematsu Y, Yorifuji T, Kasahara M, Horikawa R, Endo F. Current status of hepatic glycogen storage disease in Japan: clinical manifestations, treatments and long-term outcomes. *J Hum Genet*. 2013 Mar 14. doi: 10.1038/jhg.2013.17. [Epub ahead of print]
2. ○Kitajima T, Sakamoto S, Uchida H, Hamano I, Kobayashi M, Kanazawa H, Fukuda A, Kasahara M. Living donor liver transplantation with alternative porto-left gastric vein anastomosis in patients with post-Kasai extrahepatic portal vein obstruction. *Pediatr Transplant*. 2013 Mar 11. doi: 10.1111/petr.12067. [Epub ahead of print]
3. ○Kasahara M, Sakamoto S, Shigeta T, Uchida H, Hamano I, Kanazawa H, Kobayashi M, Kitajima T, Fukuda A, Rela M. Reducing the thickness of left lateral segment grafts in neonatal living donor liver transplantation. *Liver Transpl*. 2012 Nov 21. doi: 10.1002/lt.23572. [Epub ahead of print]
4. ○Nagao M, Tanaka T, Morii M, Wakai S, Horikawa R, Kasahara M. Improved neurologic prognosis for a patient with propionic acidemia who received early living donor liver transplantation. *Mol Genet Metab*. 2012 Oct 29. doi:pii: S1096-7192(12)00409-X. 10.1016/j.ymgme.2012.10.022. [Epub ahead of print]
5. ○Sakamoto S, Nosaka S, Shigeta T, Uchida H, Hamano I, Karaki C, Kanazawa H, Fukuda A, Nakazawa A, Kasahara M. Living donor liver transplantation using grafts with hepatic cysts. *Pediatr Transplant*. 2012 Jul 17. doi: 10.1111/j.1399-3046.2012.01761.x. [Epub ahead of print]
6. ○Sakamoto S, Shigeta T, Fukuda A, Tanaka H, Nakazawa A, Nosaka S, Uemoto S, Kasahara M. The role of liver transplantation for congenital extrahepatic portosystemic shunt. *Transplantation*. 2012 May 21. [Epub ahead of print]
7. Nosaka S, Isobe Y, Kasahara M, Miyazaki O, Sakamoto S, Uchida H, Shigeta T, Masaki H. Recanalization of post-transplant late-onset long segmental portal vein thrombosis with bidirectional transhepatic and transmesenteric approach. *Pediatr Transplant*. 2013 Mar;17(2):E71-5. doi: 10.1111/petr.12050.
8. ○Kanazawa H, Sakamoto S, Fukuda A, Uchida H, Hamano I, Shigeta T, Kobayashi M, Karaki C, Tanaka H, Kasahara M. Living-donor liver transplantation with hyperreduced left lateral segment grafts: a single-center experience. *Transplantation*. 2013 Mar 15;95(5):750-4.
9. ○Imadome K, Fukuda A, Kawano F, Imai Y, Ichikawa S, Mochizuki M, Shigeta T, Kakiuchi T, Sakamoto S, Kasahara M, Fujiwara S. Effective control of Epstein-Barr virus infection following pediatric liver transplantation by monitoring of viral DNA load and lymphocyte surface markers. *Pediatr Transplant*. 2012 Nov;16(7):748-57. doi: 10.1111/j.1399-3046.2012.01750.x.
10. 笠原群生. 肝臓移植で治療可能になった先天代謝異常症. 小児内科 2012 Oct;44(10):1594-97.
11. ○Uchida H, Sakamoto S, Shigeta T, Hamano I, Kanazawa H, Fukuda A, Karaki C, Nakazawa

- A, **Kasahara M.** Living donor liver transplantation with renoportal anastomosis for a patient with congenital absence of the portal vein. *Case Rep Surg.* 2012;2012:670289. doi: 10.1155/2012/670289.
12. OShigeta T, Sakamoto S, Kanazawa H, Fukuda A, Kakiuchi T, Karaki C, Uchida H, Matsuno N, Tanaka H, **Kasahara M.** Diaphragmatic hernia in infants following living donor liver transplantation: report of three cases and a review of the literature. *Pediatr Transplant.* 2012 Aug;16(5):496-500. doi: 10.1111/j.1399-3046.2012.01722.x.
 13. ◎Karaki C, **Kasahara M**, Sakamoto S, Shigeta T, Uchida H, Kanazawa H, Kakiuchi T, Fukuda A, Nakazawa A, Horikawa R, Suzuki Y. Glycemic management in living donor liver transplantation for patients with glycogen storage disease type 1b. *Pediatr Transplant.* 2012 Aug;16(5):465-70.
 14. OObara H, Matsuno N, Enosawa S, Shigeta T, Huai-Che H, Hirano T, Muto M, **Kasahara M**, Uemoto S, Mizunuma H. Pretransplant screening and evaluation of liver graft viability using machine perfusion preservation in porcine transplantation. *Transplant Proc.* 2012 May;44(4):959-61.
 15. OShigeta T, Matsuno N, Obara H, Mizunuma H, Kanazawa H, Tanaka H, Fukuda A, Sakamoto S, **Kasahara M**, Uemoto S, Enosawa S.. Functional recovery of donation after cardiac death liver graft by continuous machine perfusion preservation in pigs. *Transplant Proc.* 2012 May;44(4):946-7.

加藤 剛二

1. OKurosawa S, Yakushijin K, Yamaguchi T, Atsuta Y, Nagamura-Inoue T, Akiyama H, Taniguchi S, Miyamura K, Takahashi S, Eto T, Ogawa H, Kurokawa M, Tanaka J, Kawa K, **Kato K**, Suzuki R, Morishima Y, Sakamaki H, Fukuda T. Recent decrease in non-relapse mortality due to GVHD and infection after allogeneic hematopoietic cell transplantation in non-remission acute leukemia. *Bone Marrow Transplant.* 2013 Apr 8. doi: 10.1038/bmt.2013.42. [Epub ahead of print]
2. OShinzato A, Tabuchi K, Atsuta Y, Inoue M, Inagaki J, Yabe H, Koh K, **Kato K**, Ohta H, Kigasawa H, Kitoh T, Ogawa A, Takahashi Y, Sasahara Y, Kato SI, Adachi S. PBSCT Is Associated With Poorer Survival and Increased Chronic GvHD Than BMT in Japanese Paediatric Patients With Acute Leukaemia and an HLA-Matched Sibling Donor. *Pediatr Blood Cancer.* 2013 Mar 19. doi: 10.1002/pbc.24524. [Epub ahead of print]
3. OKato M, Matsumoto K, Suzuki R, Yabe H, Inoue M, Kigasawa H, Inagaki J, Koh K, Hashii Y, Tauchi H, Suminoe A, Kikuta A, Sakamaki H, Kawa K, **Kato K**, Fukuda T. Salvage allogeneic hematopoietic SCT for primary graft failure in children. *Bone Marrow Transplant.* 2013 Mar 25. doi: 10.1038/bmt.2013.36. [Epub ahead of print]
4. OAtsuta Y, Kanda J, Takanashi M, Morishima Y, Taniguchi S, Takahashi S, Ogawa H, Ohashi K, Ohno Y, Onishi Y, Aotsuka N, Nagamura-Inoue T, **Kato K**, Kanda Y. Different effects of HLA disparity on transplant outcomes after single-unit cord blood transplantation between pediatric and adult patients with leukemia. *Haematologica.* 2013 Jan 24. [Epub ahead of print]
5. ONakazawa Y, Saito S, Yanagisawa R, Suzuki T, Ito T, Ishida F, Muramatsu H, Matsumoto K, **Kato K**, Ishida H, Umeda K, Adachi S, Nakahata T, Koike K. Recipient seropositivity for adenovirus type 11 (AdV11) is a highly predictive factor for the development of AdV11-induced hemorrhagic cystitis after allogeneic hematopoietic SCT. *Bone Marrow Transplant.* 2012 Oct 29. doi: 10.1038/bmt.2012.206. [Epub ahead of print]
6. OKikuchi A, Yabe H, **Kato K**, Koh K, Inagaki J, Sasahara Y, Suzuki R, Yoshida N, Kudo K, Kobayashi R, Tabuchi K, Kawa K, Kojima S. Long-term outcome of childhood aplastic anemia patients who underwent allogeneic hematopoietic SCT from an HLA-matched sibling donor in Japan. *Bone Marrow Transplant.* 2012 Oct 29. doi: 10.1038/bmt.2012.205. [Epub ahead of print]
7. OKawashima N, Ikoma M, Sekiya Y, Narita A, Yoshida N, Matsumoto K, Hatano T, **Kato K**. Successful treatment of pulmonary hypertension with beraprost and sildenafil after cord blood transplantation for infantile leukemia. *Int J Hematol.* 2013 Jan;97(1):147-50.

8. ◎Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, **Kato K**, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab.* 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.
9. Imamura T, Iwamoto S, Kanai R, Shimada A, Terui K, Osugi Y, Kobayashi R, Tawa A, Kosaka Y, **Kato K**, Hori H, Horibe K, Oda M, Adachi S; Japan Association of Childhood Leukaemia Study. Outcome in 146 patients with paediatric acute myeloid leukaemia treated according to the AML99 protocol in the period 2003-06 from the Japan Association of Childhood Leukaemia Study. *Br J Haematol.* 2012 Oct;159(2):204-10. doi: 10.1111/bjh.12030.
10. ◎Kobayashi R, Fujita N, Mitsui T, Iwasaki F, Suzumiya J, Kuroda H, Nishimura R, Sasahara Y, Takeshita Y, **Kato K**, Okumura H, Sakamaki H, Yabe H, Kawa K, Kato K, Suzuki R. Stem cell transplantation for paediatric patients with non-anaplastic peripheral T-cell lymphoma in Japan. *Br J Haematol.* 2012 Oct;159(1):88-93. doi: 10.1111/bjh.12001.
11. ◎Shimada A, Takahashi Y, Muramatsu H, Hama A, Ismael O, Narita A, Sakaguchi H, Doisaki S, Nishio N, Tanaka M, Yoshida N, Matsumoto K, **Kato K**, Watanabe N, Kojima S. Excellent outcome of allogeneic bone marrow transplantation for Fanconi anemia using fludarabine-based reduced-intensity conditioning regimen. *Int J Hematol.* 2012 Jun;95(6):675-9. doi: 10.1007/s12185-012-1079-9.

小林 博司

1. Sato Y, Fujiwara M, **Kobayashi H**, Ida H. Massive Accumulation of Glycosaminoglycans in the Aortic Valve of a Patient With Hunter Syndrome During Enzyme Replacement Therapy. *Pediatr Cardiol.* 2013 Feb 13. [Epub ahead of print]
2. ONishiyama Y, Shimada Y, Yokoi T, **Kobayashi H**, Higuchi T, Eto Y, Ida H, Ohashi T. Akt inactivation induces endoplasmic reticulum stress-independent autophagy in fibroblasts from patients with Pompe disease. *Mol Genet Metab.* 2012 Nov;107(3):490-5. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.011.
3. OHashi T, Iizuka S, Shimada Y, Higuchi T, Eto Y, Ida H, **Kobayashi H**. Administration of anti-CD3 antibodies modulates the immune response to an infusion of α -glucosidase in mice. *Mol Ther.* 2012 Oct;20(10):1924-31. doi: 10.1038/mt.2012.133.
4. ◎Higuchi T, Shimizu H, Fukuda T, Kawagoe S, Matsumoto J, Shimada Y, **Kobayashi H**, Ida H, Ohashi T, Morimoto H, Hirato T, Nishino K, Eto Y. Enzyme replacement therapy (ERT) procedure for mucopolysaccharidosis type II (MPS II) by intraventricular administration (IVA) in murine MPS II. *Mol Genet Metab.* 2012 Sep;107(1-2):122-8.

酒井 規夫

1. ◎Tokushige SI, Sonoo T, Maekawa R, Shirota Y, Hanajima R, Terao Y, Matsumoto H, Hossain MA, **Sakai N**, Shiio Y., Isolated pyramidal tract impairment in the central nervous system of adult-onset Krabbe disease with novel mutations in the GALC gene., *Brain Dev.* 2012 Sep 5. [Epub ahead of print]
2. ◎Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, **Sakai N**, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab.* 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.
3. Miura K, Namba N, Fujiwara M, Ohata Y, Ishida H, Kitaoka T, Kubota T, Hirai H, Higuchi C, Tsumaki N, Yoshikawa H, **Sakai N**, Michigami T, Ozono K. An overgrowth disorder associated with excessive production of cGMP due to a gain-of-function mutation of the natriuretic peptide receptor 2 gene. *PLoS One.* 2012;7(8):e42180. Epub 2012 Aug 3.

新開 真人

1. Kurosawa K, Enomoto K, Tominaga M, Furuya N, Sameshima K, Iai M, Take H, **Shinkai M**, Ishikawa H, Yamanaka M, Matsui K, Masuno M. Spastic quadriplegia in Down syndrome with congenital duodenal stenosis/atresia. *Congenit Anom (Kyoto)*. 2012 Jun;52(2):78-81.

田中 あけみ

1. ◎**Tanaka A**, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. *Mol Genet Metab*. 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.

辻 省次

1. Terao Y, Fukuda H, Shirota Y, Yugeta A, Yoshioka M, Suzuki M, Hanajima R, Nomura Y, Segawa M, **Tsuji S**, Ugawa Y. Deterioration of horizontal saccades in progressive supranuclear palsy. *Clin Neurophysiol*. 2012 Aug 7. [Epub ahead of print]
2. Mitsui J, Matsukawa T, Ishiura H, Higasa K, Yoshimura J, Saito TL, Ahsan B, Takahashi Y, Goto J, Iwata A, Niimi Y, Riku Y, Goto Y, Mano K, Yoshida M, Morishita S, **Tsuji S**. CSF1R mutations identified in three families with autosomal dominantly inherited leukoencephalopathy. *Am J Med Genet B Neuropsychiatr Genet*. 2012 Dec;159B(8):951-7. doi: 10.1002/ajmg.b.32100.
3. Naruse H, Takahashi Y, Kihira T, Yoshida S, Kokubo Y, Kuzuhara S, Ishiura H, Amagasa M, Murayama S, **Tsuji S**, Goto J. Mutational analysis of familial and sporadic amyotrophic lateral sclerosis with OPTN mutations in Japanese population. *Amyotroph Lateral Scler*. 2012 Oct;13(6):562-6. doi: 10.3109/17482968.2012.684213.
4. Ohtomo R, Iwata A, **Tsuji S**. Unilateral Opercular Infarction Presenting with Foix-Chavany-Marie Syndrome. *J Stroke Cerebrovasc Dis*. 2012 Oct 5. doi:pii: S1052-3057(12)00278-9.
5. Hida A, Ishiura H, Arai N, Fukuoka H, Hasuo K, Goto J, Uesaka Y, **Tsuji S**, Takeuchi S. Adult-onset Alexander disease with an R66Q mutation in GFAP presented with severe vocal cord paralysis during sleep. *J Neurol*. 2012 Oct;259(10):2234-6. doi: 10.1007/s00415-012-6540-4.
6. Terao Y, Saitsu H, Segawa M, Kondo Y, Sakamoto K, Matsumoto N, **Tsuji S**, Nomura Y. *J Neurol Sci*. 2012 Sep 15;320(1-2):102-5.
7. Ishiura H, Takahashi Y, Mitsui J, Yoshida S, Kihira T, Kokubo Y, Kuzuhara S, Ranum LP, Tamaoki T, Ichikawa Y, Date H, Goto J, **Tsuji S**. C9ORF72 repeat expansion in amyotrophic lateral sclerosis in the Kii peninsula of Japan. *Arch Neurol*. 2012 Sep 1;69(9):1154-8.
8. Maeda MH, **Tsuji S**, Shimizu J. Inflammatory myopathies associated with anti-mitochondrial antibodies. *Brain*. 2012 Jun;135(Pt 6):1767-77.
9. Suzuki K, Zhou J, Sato T, Takao K, Miyagawa T, Oyake M, Yamada M, Takahashi H, Takahashi Y, Goto J, **Tsuji S**. DRPLA transgenic mouse substrains carrying single copy of full-length mutant human DRPLA gene with variable sizes of expanded CAG repeats exhibit CAG repeat length- and age-dependent changes in behavioral abnormalities and gene expression profiles. *Neurobiol Dis*. 2012 May;46(2):336-50.

麦島 秀雄

1. Abe Y, Okada T, Iguchi H, Saito E, Kuromori Y, Iwata F, Hara M, **Mugishima H**, Kitamura Y. Association of Changes in Body Fatness and Fatty Acid Composition of Plasma Phospholipids During Early Puberty in Japanese Children. *J Atheroscler Thromb*. 2012 Aug 3. [Epub ahead of print]
2. ◎**Tanaka A**, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, Yabe H, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R,

Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. Mol Genet Metab. 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.

3. Fuchigami T, Imai Y, Hasegawa M, Ishii W, Endo A, Arakawa C, Kohira R, Hashimoto K, Fujita Y, Inamo Y, **Mugishima H**. Acute encephalopathy with pandemic (H1N1) 2009 virus infection. Pediatr Emerg Care. 2012 Oct;28(10):998-1002.
4. **Mugishima H**. Current status of molecular biology and treatment strategy for neuroblastoma. Int J Clin Oncol. 2012 Jun;17(3):189.
5. Ogawa E, Urakami T, Suzuki J, Yoshida A, Takahashi S, **Mugishima H**. Usefulness of HbA1c to diagnose diabetes among Japanese children detected by a urine glucose screening program in the Tokyo Metropolitan Area. Endocr J. 2012 Jun 30;59(6):465-71.
6. Noto N, Okada T, Abe Y, Miyashita M, Kanamaru H, Karasawa K, Ayusawa M, Sumitomo N, **Mugishima H**. Characteristics of earlier atherosclerotic involvement in adolescent patients with Kawasaki disease and coronary artery lesions: significance of gray scale median on B-mode ultrasound. Atherosclerosis. 2012 May;222(1):106-9.

矢部 普正

1. ○Kato M, Matsumoto K, Suzuki R, **Yabe H**, Inoue M, Kigasawa H, Inagaki J, Koh K, Hashii Y, Tauchi H, Suminoe A, Kikuta A, Sakamaki H, Kawa K, Kato K, Fukuda T. Salvage allogeneic hematopoietic SCT for primary graft failure in children. Bone Marrow Transplant. 2013 Mar 25. doi: 10.1038/bmt.2013.36. [Epub ahead of print]
2. Shinzato A, Tabuchi K, Atsuta Y, Inoue M, Inagaki J, **Yabe H**, Koh K, Kato K, Ohta H, Kigasawa H, Kitoh T, Ogawa A, Takahashi Y, Sasahara Y, Kato SI, Adachi S. PBSCT Is Associated With Poorer Survival and Increased Chronic GvHD Than BMT in Japanese Paediatric Patients With Acute Leukaemia and an HLA-Matched Sibling Donor. Pediatr Blood Cancer. 2013 Mar 19. doi: 10.1002/pbc.24524. [Epub ahead of print]
3. Hatanaka K, Fuji S, Ikegame K, Kato R, Wake A, Hidaka M, Ito T, Inoue M, Nagatoshi Y, Takami A, Uike N, Sakamaki H, **Yabe H**, Morishima Y, Suzuki R, Atsuta Y, Fukuda T. Low incidences of acute and chronic graft-versus-host disease after unrelated bone marrow transplantation with low-dose anti-T lymphocyte globulin. Int J Hematol. 2012 Nov 7. [Epub ahead of print]
4. Kikuchi A, **Yabe H**, Kato K, Koh K, Inagaki J, Sasahara Y, Suzuki R, Yoshida N, Kudo K, Kobayashi R, Tabuchi K, Kawa K, Kojima S. Long-term outcome of childhood aplastic anemia patients who underwent allogeneic hematopoietic SCT from an HLA-matched sibling donor in Japan. Bone Marrow Transplant. 2012 Oct 29. doi: 10.1038/bmt.2012.205. [Epub ahead of print]
5. Yabe M, Masukawa A, Kato S, **Yabe H**, Nakamura N, Matsushita H. Systemic mastocytosis associated with t(8;21) acute myeloid leukemia in a child: Detection of the D816A mutation of KIT. Pediatr Blood Cancer. 2012 Dec 15;59(7):1313-6. doi: 10.1002/pbc.24250.
6. ○Tanaka A, Okuyama T, Suzuki Y, Sakai N, Takakura H, Sawada T, Tanaka T, Otomo T, Ohashi T, Ishige-Wada M, **Yabe H**, Ohura T, Suzuki N, Kato K, Adachi S, Kobayashi R, Mugishima H, Kato S. Long-term efficacy of hematopoietic stem cell transplantation on brain involvement in patients with mucopolysaccharidosis type II: A nationwide survey in Japan. Mol Genet Metab. 2012 Nov;107(3):513-20. doi: 10.1016/j.ymgme.2012.09.004.
7. Kobayashi R, Fujita N, Mitsui T, Iwasaki F, Suzumiya J, Kuroda H, Nishimura R, Sasahara Y, Takeshita Y, Kato K, Okumura H, Sakamaki H, **Yabe H**, Kawa K, Kato K, Suzuki R. Stem cell transplantation for paediatric patients with non-anaplastic peripheral T-cell lymphoma in Japan. Br J Haematol. 2012 Oct;159(1):88-93. doi: 10.1111/bjh.12001.
8. Kato M, Horikoshi Y, Okamoto Y, Takahashi Y, Hasegawa D, Koh K, Takita J, Inoue M, Kigasawa H, Ogawa A, Sasahara Y, Kawa K, **Yabe H**, Sakamaki H, Suzuki R, Kato K. Second allogeneic hematopoietic SCT for relapsed ALL in children. Bone Marrow Transplant. 2012 Oct;47(10):1307-11. doi: 10.1038/bmt.2012.29.
9. Fuji S, Nakamura F, Hatanaka K, Taniguchi S, Sato M, Mori S, Sakamaki H, **Yabe H**, Miyamoto T, Kanamori H, Ueda Y, Kawa K, Kato K, Suzuki R, Atsuta Y, Tamaki T, Kanda Y. Peripheral blood as a preferable source of stem cells for salvage transplantation in patients with graft