

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）
分担研究報告書

国内の副腎白質ジストロフィー症に対する造血細胞移植成績に関する研究
研究分担者 加藤剛二 名古屋第一赤十字病院小児科

研究要旨

国内の副腎白質ジストロフィー症 112 例に対する造血細胞移植成績を解析した。5 年生存率は 91.1%、5 年無病生存率は 76%。2006 年以降臍帯血移植の成績が有意に向上し、前処置の全身放射線照射施行例で無イベント生存率が有意に良好であった。

A．研究目的

国内の副腎白質ジストロフィー症(ALD) に対する造血細胞移植成績を解析してその 予後因子を同定する。

B．研究方法

日本造血細胞移植学会に登録されたALD 症例につき生着率、移植関連死亡率、生存率、無病生存率、移植後のLoes scoreの推移を解析した。対象は1988年から2015年までに初回移植がなされた112例で移植時年齢の中央値は8歳、移植前のLoes scoreの中央値は11点(0-18)。移植細胞は骨髄が62例、臍帯血が50例であった。

(倫理面への配慮)

各移植施設で移植症例は匿名化されているため個人情報の保護はなされている。

C．研究結果

生着率は82.1%であり、メルファランの投与量が140mg/m²以下では有意に生着率が低下していた。5年移植関連死亡率は7.9%、5年生存率は91.1%、無イベント生存率は76.0%であり、移植後のLoes scoreは臍帯血移植において骨髄移植と比較して良好な傾向にあった。また全身放射線照射(TBI)が無イベント生存率の有意な予後良好因子であった。

D．考察

先天性代謝異常症に対する造血細胞移植においては生着不全の頻度が高いためメルファランの量の調整が重要と考えられる。また従来成績不良であった臍帯血移植の成績が近年有意に向上しているのは前処置のTBIが寄与している可能性が高い。

E．結論

予後絶対不良のALD症例に対する造血細胞移植は近年臍帯血移植の導入と前処置として実施したTBIによってその治療成績が向上している。

F．研究発表

1. 論文発表
なし

2. 学会発表

2018年2月2日第40回日本造血細胞移植学会(札幌)にて発表

G．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