

## さい帯血情報



# デューク大学の拡大アクセス制度の報告

さい帯血情報Vol.94でご紹介したデューク大学が実施している拡大アクセス制度（EAP）の初期報告がされていますのでご紹介いたします。

文献； Colleen A. M, et al. Expanded Access Protocol of Umbilical Cord Blood Infusion for Children with Neurological Conditions. Stem Cells Transl Med. 2019 Sep; 8(Suppl Suppl 1): S4-S5.

これまでに1400人以上の子供がスクリーニングプロトコルに登録し、2017年11月から2019年6月までに、276人の子供がEAPの下で計302回のさい帯血投与を受けています。凍結保存する前のさい帯血細胞数の中央値は $7.8 \times 10^8$ 個で、実際に投与された細胞数は $2.5 \times 10^7$ 個/kgでした。

表 被験者、さい帯血投与の特徴

被験者の特徴(n=276)	中央値	パーセンテージの範囲
年齢、年、中央値（範囲）	5.8	0.2-18
性別、n(%)		
男性	194	70%
女性	82	30%
人種、n(%)		
コケイジャン（白人）	186	67%
非コケイジャン（非白人）	90	33%
診断、n(%)		
自閉症	160	58%
脳性まひ	70	25%
その他	46	17%
投与回数、n(%)		
1回	253	92%
2回以上	23	8%
さい帯血(n=277), 投与(n=302)の特徴		
由来、n(%)		
自己	160	58%
きょうだい間	117	42%
全有核細胞数(TNCC) ( $\times 10^8$ ), 中央値(範囲)	7.8	0.4-79.5%
生存率(%), 中央値(範囲)	95	74-100
解凍後の投与量( $\times 10^7$ /kg), 中央値(範囲)	2.5	0.1-43.3
解凍後の無菌試験成績、n(菌)	6	ブドウ球菌 x5 大腸菌 x1

※デューク大学では、臨床試験の参加が不適合とされた、特定の疾患を持つお子さまに自身またはごきょうだいのさい帯血を投与する拡大アクセス制度という機会を提供しています。

# さい帯血情報



## 主な対象基準について

### <対象疾患>

- ・自閉症スペクトラム
- ・水頭症
- ・低酸素性虚血性脳症
- ・脳性まひ
- ・失語症
- ・溺水；無酸素症

### <対象年齢>

0～26歳\*

### <適格基準>

- ・自身またはきょうだいの適したさい帯血が保管されていること
- ・参加同意時に26歳\*未満であること
- ・血液データが正常値であること
- ・肝炎ウイルスやHIVに感染していないこと
- ・制御不可能な発作症状がないこと
- ・神経系の遺伝性または代謝性疾患を有していないこと
- ・過去に免疫不全状態になったことがないこと
- ・化学療法または免疫抑制療法による治療歴がないこと
- ・これまでに他者由来の幹細胞移植または投与を受けていないこと
- ・人工呼吸器などのサポートの必要がないこと
- ・これまでに気道を確保できないといったことがないこと

## 結果について

この1年間の追跡調査アンケートでは、83の家族の内、54の家族（65%）から回答を得ています。

結果、臨床的な改善はさまざまでしたが、さい帯血の投与は安全かつ実行可能であり、今後、有効性評価のため第II/III相臨床試験の実施が必要とされています。

\*2019年12月に対象年齢の上限が18歳から26歳へと引き上げられています。