

さい帯血情報

米国デューク大学の拡大アクセス制度による さい帯血投与の患者様向け情報

米国デューク大学が米国食品医薬品局の承認のもと、拡大アクセス制度 (Expanded Access Protocol) によるさい帯血投与を開始しています。今回のさい帯血情報では、その患者様向けパンフレットを邦訳してご紹介します。

Expanded Access Protocol Umbilical Cord Blood Infusion PATIENT INFORMATION

(拡大アクセス制度による
さい帯血投与の患者様向け情報)

デューク大学医療センターさい帯血投与のEAP (Expanded Access Protocol) に興味をお持ちいただき、ありがとうございます。このパンフレットにて本プログラムへのご理解を深めていただき、お子さんにとってより良い選択をしていただければと思います。

▼ 研究について

デューク大学では、脳障害や特定の神経疾患を持つお子さんの治療方法を研究しています。さい帯血投与はその中の一つの選択肢です。これまで我々は、複数の初期臨床試験を行い、お子さん自身のさい帯血や、きょうだい間のさい帯血 (ハプロカフルマッチ) 投与の安全性の確認をしてきました。現在も、神経疾患に対してさい帯血とその関連製剤が、病気の症状を改善する効果があるのか調べるため、研究を続けています。このEAPの目的は、デューク大学で行われている臨床試験に不適合とされた、特定の神経疾患を持つお子さんに自家 (お子さん自身の) あるいは他家 (ごきょうだいの) さい帯血投与の機会を提供することです。対象*となるのは、脳性麻痺、低酸素性脳症、脳卒中、水頭症、失行症、その他の脳障害を持つお子さん方です。このパンフレットでは、お子さんがこの試験に参加される場合の流れについてご説明いたします。

*2023年1月時点で、
自閉症スペクトラム障害は対象ではありません。

▼ お子さんは候補に？

デューク大学にてお子さんが受診される前に、お子さんがEAPでさい帯血投与を受けられるかどうか、適性テストを受ける必要があります。

あなたの同意書を頂いた上で、テストの一部として、あなたのお子さん (またはごきょうだい) のさい帯血レポートと医療記録が審査されます。



臨床検査とHLA型試験のために、血液または口腔粘膜サンプル (頬の内側から採取)、もしくはその両方を提出して頂きます。HLA型試験では、お子さんとごきょうだいのHLA型が“マッチ”するか、また、さい帯血検体とドナーとの同一性を確認します。

これらの情報がすべて確認され、もしお子さんがさい帯血投与を受けるのに適格であると判断された場合、お子さんあるいはごきょうだいのさい帯血検体をデューク大学に移送すると共に、お子さんの診察訪問が準備されます。

CONTACT INFORMATION

If you have any questions regarding the Expanded Access Protocol, please feel free to contact us.

Our team can be reached via email at cordbloodtherapyinfo@dm.duke.edu or by phone at (919) 668-1102.

▲ デューク大学連絡先

▼プログラムへの参加費はいくらぐらいですか？

本プログラムにて行われる全ての検査、往診、施術の費用は、あなたの保険会社に申請されます。費用の総計は約15000米国ドルです。もし保険会社が費用をカバーする場合、保険会社が定める全ての患者負担額（定額控除、共同負担、最低自己負担額等）はあなたに支払い責任があります。もし保険会社が支払いを拒んだ場合は、デューク大学Medical Centerから総額の請求書が送られてきます。その場合、保険未適用者の割引があるので、電話番号（919）620-4555 か（800）782-6945の受付センターまでご連絡ください。割引後の請求額について、あなたには支払い責任があります。もしあなたのお子さんが米国内の医療保険に加入していない場合、私たちの国際オフィスが前納のためのお手続きをサポート致します。

▼プログラムに参加するリスクと利益の可能性について教えてください

デューク大学では脳障害とその関連疾患の子供に対してさい帯血投与を700件以上行ってきました。我々の経験では1.5%の患者さんがアレルギー症状を示します。おそらくこれは細胞を凍結する際に使用している保存料のDMSOに起因するものではないかと考えられます。こうした反応は、投与を停止して、必要に応じて対処薬により改善します。

その他、さらにまれなリスクとしては、感染症への罹患、赤血球の溶血、自己免疫疾患等が挙げられます。そして極まれに、きょうだい間のさい帯血投与によって投与片対宿主病（GvHD）が起こります。この病気は、投与されたさい帯血細胞がお子さんの体に対して起こす反応によって引き起こされます。投与片対宿主病の症状としては軽度の発疹から、重度の皮膚、肝臓、（消化管）での多臓器不全が含まれます。理論上起こり得るこれらのリスクについて、お子さんに対してもモニターしますが、現在までの試験でこうした合併症を発症したお子さんはいません。

このプログラムは採血や静脈カテーテルの留置を行う必要があります。こうした施術により起こり得るリスクとしては、瞬時の不快感、あざ、感染症、出血、凝血、失神などです。一部のお子さんは静脈カテーテル設置の際、緊張をほぐす目的で、経口や経鼻でのMidazolam（ミダゾラム・鎮静薬）の投薬を受けます。ミダゾラムの副作用には、過剰な眠気や鎮静、頭痛、しゃっくり、心停止、不随意運動、興奮、呼吸の変化、血中酸素量の低下などが含まれます。これらのリスクの詳細は同意書に挙げられており、我々のチームスタッフがこれらのリスクについて、診察訪問の前と訪問中に詳しく調べます。

このプログラムに参加するメリットの一つとして、さい帯血細胞投与がお子さんの病状を改善する可能性が挙げられます。しかし、医学的な効果は保証されるものではありません。



免責事項： この資料は、米国デューク大学から好意のもと配布していただいた患者様向けの英文パンフレットを、ステムセル研究所が独自に日本語に翻訳したもので、これにより生じるいかなる損失や不測の事態の責任をステムセル研究所は負いかねます。ご了承ください。

VISIT
INFORMATION

診察訪問について

診察訪問の前に：

あなたのお子さんの診察訪問の前に、投与用さい帯血検体中の細胞が十分に健全かをデューク大学にて調べる必要があります。一部のサンプルを用いて検査を行い、すべての検査の終了後に基準を満たしていると判断された場合、デューク大学へのさい帯血検体の移送を行い、お子さんのデューク大学での受診予約をしていただきます。さい帯血検体の移送は、検体を保管する民間バンクと我々が連絡を取り合いますが、移送費についてはあなたと民間バンクの間で直接取り決めてください。

診察訪問中は：

あなたのお子さんの初診日の前日にDurham地区に到着し、少なくとも投与の翌日までは同地区内に滞在するようお願いします。

診察訪問1日目

あなた方がデューク大学に到着し、当チームスタッフによる簡単な医療チェックを受けた後、二枚の同意書へのサインをお願いします。一枚はExpanded Access Protocol用で、もう一枚は国立骨髄ドナープログラムの研究用データベース (NMDP/CIBMTR) 用です。あなた方の診察訪問前にこれらの同意書をお送りしますので、熟読しておいてください。お子さんへのさい帯血投与を行うためには、これらの同意書へのサインと医療行為への許可が必要です。もし同意書について質問がある場合は、デューク大学に経つ前にお知らせください。インフォームド・コンセントの話し合いがもたれた後、あなたのお子さんの本格的な病歴と身体的な検査を行います。

診察訪問2日目

投与日には、あなたのお子さんはデューク大学病院内のChildren's Health Centerにある小児外来患者用の輸血センター、Valvano Day Hospitalにて投与を受けます。あなたのお子さん、またはお子さんのきょうだいのさい帯血はデューク Stem Cell Transplant Laboratoryにて融解され、洗浄されて投与診療室に送られます。あなたのお子さんが受付を終えたら、お子さんに静脈カテーテルを設置します。すべてのお子さんにではありませんが、中には麻酔クリームや経口、あるいは経鼻の薬 (Midazolam

(ミダゾラム・鎮静薬) または類似薬) を投与して、静脈カテーテル設置前にリラックスしてもらうことがあります。

さい帯血投与前に、Benadryl とステロイド系薬剤 (Solumedrol) が静脈カテーテルからお子さんへと投与されます。これらの薬剤は、さい帯血投与で起こる可能性があるアレルギー反応を抑えるために投与されます。そして次に、さい帯血が5-20分かけて投与されます。投与中は、お子さんの心拍数と血中酸素濃度が計測されます。お子さんは1時間にわたり静脈内輸液を受けて、その後に経過観察されます。

観察期間が終了したらお子さんから静脈カテーテルが抜かれるので、あなたとお子さんは宿泊先に戻っていただいで構いません。お子さんの健康状態に懸念が生じた場合に備え、メディカルチームの夜間の連絡先もお知らせします。投与当日の夜は、地区外には出ずに、地区内に滞在するようお願いいたします。

診察訪問3日目

投与後1日目には我々のチームに連絡をください。そして、お子さんについて何も懸念がないことをお知らせください。何も問題がなければ、ご帰宅いただけます。もしあなた方が外国から訪問するのであれば、米国に少なくとも2日間は滞在するようお願いします。

**診察訪問の後は：**

継続的に我々と連絡を取ってお子さんの予後と、新たな健康上の問題点について報告してください。我々も、問診表を完成させるために、投与後1年目に、お子さんの変化についてご連絡させていただきます。ほとんどのお子さんは、さい帯血投与を一回行うのに十分な量のさい帯血をお持ちです。ですが、もし投与後も余剰の細胞があり、あなたのお子さんやご家族への将来の使用のためにデューク Stem Cell Transplant Laboratoryでの細胞保存を希望する場合は、細胞保存の契約書に署名していただきます。この場合は、チームスタッフが今後の投与オプションについてあなたとご相談させていただきます。