



デューク大学で拡大アクセス制度を利用し 臍帯血投与を受けたお子様ご家族の体験記

当社で臍帯血を保管し、デューク大学による拡大アクセス制度を利用し、きょうだいの臍帯血投与を受けたお子様ご家族の体験記をご紹介します。

参加者情報

- ・対象のお子様：5歳（参加時点）
- ・経緯：妊娠25週に切迫早産にて689gにて出産し、退院時に脳室周囲白質軟化症と診断。
- ・症状：座位保持、立位、独歩不可、手足に麻痺がある。

EAPへの参加登録から臍帯血の投与まで

- 2020年 1月 デューク大学のEAP申込みサイトに登録。基本情報を入力する専用サイトのURLが届く。
- 2020年 3月 次のステップに進むには数か月の待機が必要との回答メールが届く。
- 2020年 9月 状況確認のために再度メールを送信、さらに1年以上かかる見込みとの回答メールが届く。
- 2021年 6月 次のステップであるスクリーニングのプロセスに進む準備ができたとのメールが届く。
また、参加の意思と費用(15,000ドル)の前払いの意思の確認を受ける。
- 2021年 7月 スクリーニングの同意手続きに関するサイトのURLがメールで届く。
- 2021年 8月 以下の書類の提出依頼がメールで届く。
直近1年間の血液検査結果、診断書、医師の所見が記載されたMRI検査結果、発達診断、幼稚園や療育の状況、リハビリの状況について、レビューを送付。
- 2021年 9月 15,000ドル支払い（電子送金かカードでの支払いが可能。但しVISAは不可）。
- 2021年 10月 デューク大学とステムセル研究所の間で臍帯血輸送の段取りが始まる。
- 2021年 12月 臍帯血がステムセル研究所からデューク大学に送られ、臍帯血の検査が行われる。
- 2022年 1月 デューク大学で実施する臍帯血のHLA検査に必要な200ドルを支払う。
臍帯血投与のスケジュールがいくつか提案されるので選択する。
- 2022年 2月 臍帯血の検査および患者の質問について回答をする。
- 2022年 3月 投与… 1日目 診察(滞在2時間)/ 2日目 臍帯血投与(滞在3時間半)/ 3日目 電話連絡/
4日目 帰国 となる。

感想

最初は、長い待機が必要と連絡があり、当事者としてはとてもやきもきしましたが、スクリーニングに進んでからは、Duke大学のメール応答も速く、事がどんどん進みました。診断書などの用意には非常に時間がかかり、この準備を事前に知っていれば、もっと早く治療日程を決められたと思います。病院によっては英語書類の準備に対応していない場合もあると思いますが、翻訳ソフトで英訳し、原本と共に送付することでも問題ありませんでした。ほとんどのやりとりはメールですが、翻訳ソフトで問題なくコミュニケーションをとる事ができました。電話をする機会もありますが、Duke大学で通訳の方を用意していただきました。臍帯血の投与から1か月ほど経過しました。体調などの問題はでておりません。運動ではまだまだリハビリが必要ですが座位が保てるようになってきたり、緊張が緩和してきたりなど、徐々に改善しているように感じています。





デューク大学による拡大アクセス制度（EAP）では、これまでに2千名以上のお子供がスクリーニングの対象に登録され、2017年11月から2021年6月までに、464名が臍帯血投与を受けています（詳細は下表参照）。

参加者の詳細（n=464）

年齢	中央値	範囲
	6.0	0.2-23.4
性別	人数	割合
男性	335	72%
女性	129	28%
使用した疾患	人数	割合
自閉症	278	60%
脳性まひ	122	26%
その他（脳神経障害）	64	14%
さい帯血投与回数	人数	割合
1回	419	90%
2回以上	45	10%
ドナー細胞と患者の関係	人数	割合
自家投与	246	50%
きょうだい間投与	248	50%
使用されたさい帯血に関するデータ	中央値	範囲
全有核細胞数（ $\times 10^8$ ）	4.34	0.3-22.4
細胞生存率（%）	94	74-100

※ステムセル研究所調べ