

報道関係各位

2016年2月16日

国立大学法人 東京医科歯科大学

## 東京医科歯科大学が先天性肺胞蛋白症患者に対する 造血細胞移植による治療に世界で初めて成功

東京医科歯科大学 医学部附属病院小児科 森尾 友宏教授と金兼 弘和准教授のグループは、これまで治療が困難であった稀で重症の先天性肺胞蛋白症患者に対する造血細胞移植を2015年7月に実施し、世界で初めて成功しました。本治療により、患児の症状は改善し、状態良好にて2015年11月に退院しました。

東京医科歯科大学では今回の経験を活かして、今後も継続して小児の難病に対して造血細胞移植を行っていく予定です。

### 【ポイント】

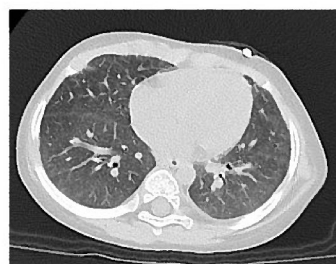
- 原発性免疫不全症を背景とする重症の先天性肺胞蛋白症患者に対して造血細胞移植を実施した。
- 造血細胞移植によって樹状細胞が回復し、肺胞蛋白症も改善したと考えられる。また、今回の治療において移植片対宿主病の合併は認められるが、重篤な副作用は見られていない。
- 先天性肺胞蛋白症が造血細胞移植によって治ることが示されるとともに、原発性免疫不全症を背景とするさまざまな難病が造血細胞移植によって治る可能性が示唆される。

発症時



肺野の背側に浸潤影を認める

移植後105日



浸潤影は消失

### 【背景】

埼玉県在住の1歳女児。生後5か月時にRSウイルスによる重症肺炎発症を契機に原因不明の免疫不全症ならびに間質性肺炎と診断され、精査加療目的で2015年3月に当院に紹介入院となった。当院での精査の結果、肺胞蛋白症、低ガンマグロブリン血症、および樹状細胞の欠損が明らかとなった。肺胞蛋白症の原因は樹状細胞の欠損によるものと考えられ、造血細胞移植によって治癒が望めると判断した。

## 【治療の実施方法】

2015年5月にHLA1座不一致臍帯血移植を行ったが、残念ながら生着不全となった。そこで7月にHLAが3座不一致の父親をドナーとして骨髄移植を行った。移植後、重症の急性移植片対宿主病を始めとする様々な合併症が生じたが、主治医チームの懸命な治療によって回復し、11月に退院することができるようになった。移植後は、樹状細胞が回復し、肺胞蛋白症が改善した(上図)。

## 【今後の展望】

患児でなぜ樹状細胞が欠損していたのか不明であり、低ガンマグロブリン血症のメカニズムも不明である。現在小児科の免疫グループでは当大学の難治疾患研究所 生体防御学分野 檮木 俊聡教授らのグループとともに原因解明に取り組んでおり、原因が明らかになれば、より安全で効果的な治療法の開発に繋がるものと期待される。

## 【用語集】

### ・ 肺胞蛋白症

肺胞内に肺サーファクタントが異常に貯留する疾患であり、有病率は100万人あたり6人と稀である。そのうち先天性肺胞蛋白症は1%とされ、極めて稀な疾患である。

### ・ 原発性免疫不全症

免疫担当細胞の先天的欠陥による易感染性、自己免疫、自己炎症、悪性腫瘍をきたす遺伝性疾患であり、厚生労働省から難病に指定されている。現在300種類以上の原因が知られているが、まだ原因不明の疾患もある。

### ・ 造血細胞移植

血液をつくる元になる造血幹細胞を含む造血細胞を患者(レシピエント)に移植することである。ドナーソースによって骨髄移植、臍帯血移植、末梢血幹細胞移植に分けられ、移植後は長期間にわたり免疫抑制剤の投与を必要とする。

## 【問い合わせ先】

### <治療に関すること>

東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科

発生発達病態学分野 氏名 森尾 友宏(モリオ トモヒロ)

氏名 金兼 弘和(カネガネ ヒロカズ)

TEL:03-5803-6111 FAX:03-5803-0110

E-mail:[tmorio.ped@tmd.ac.jp](mailto:tmorio.ped@tmd.ac.jp) または [hkanegane.ped@tmd.ac.jp](mailto:hkanegane.ped@tmd.ac.jp)

### <報道に関すること>

東京医科歯科大学 広報部広報課

〒113-8510 東京都文京区湯島 1-5-45

TEL:03-5803-5011 FAX:03-5803-0272

E-mail:[kouhou.adm@tmd.ac.jp](mailto:kouhou.adm@tmd.ac.jp)