

## 【Hunter症候群における造血幹細胞移植】

一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター

2013年11月21日

【Hunter症候群における造血幹細胞移植】

- ・ 2012年度固定データセット（2011年12月までの移植データ）を使用。
- ・ TRUMP項目「先天性代謝異常\_ムコ多糖症\_分類」のうち、「II(Hunter)」の症例数は46例あり、その他自由記載等ではHunter症候群の記載はなかった。
- ・ 46例うち1993年の自家移植1例および移植種類が不明な1例（1994年移植）は対象から除外し、44例を対象とした。

Table1.

	血縁者間 骨髄移植		血縁者間末梢血 幹細胞移植		非血縁者間 骨髄移植		臍帯血移植		合計	
	n	%	n	%	n	%	n	%	n	%
患者数	23	52.3%	2	4.6%	9	20.5%	10	22.7%	44	100.0%
移植年										
-1990	1	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	2.3%
1991-1995	5	21.7%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	5	11.4%
1996-2000	9	39.1%	2	100.0%	4	44.4%	4	40.0%	19	43.2%
2001-2005	4	17.4%	0	0.0%	1	11.1%	2	20.0%	7	15.9%
2006-2011	4	17.4%	0	0.0%	4	44.4%	4	40.0%	12	27.3%
性別										
男	23	100.0%	2	100.0%	9	100.0%	10	100.0%	44	100.0%
女	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
移植回数										
1	23	100.0%	0	0.0%	9	100.0%	9	90.0%	41	93.2%
2	0	0.0%	2	100.0%	0	0.0%	1	10.0%	3	6.8%
移植時年齢	median(min-max)	4(0-9)	4(2-6)	4(1-8)	4.5(2-9)	4(0-9)				
移植前処置										
CY+TBI±	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	4	40.0%	4	9.1%
BU+CY±	17	73.9%	0	0.0%	7	77.8%	2	20.0%	26	59.1%
Other non TBI	1	4.4%	1	50.0%	0	0.0%	1	10.0%	3	6.8%
FL±TBI±	3	13.0%	0	0.0%	2	22.2%	3	30.0%	8	18.2%
Other RIST	2	8.7%	1	50.0%	0	0.0%	0	0.0%	3	6.8%
GVHD予防法										
無し	1	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	2.3%
CyA+MTX	12	52.2%	1	50.0%	3	33.3%	2	20.0%	18	40.9%
CyA±	8	34.8%	1	50.0%	0	0.0%	2	20.0%	11	25.0%
Tac+MTX	1	4.4%	0	0.0%	6	66.7%	5	50.0%	12	27.3%
Tac±	1	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	1	10.0%	2	4.6%

【Hunter症候群における造血幹細胞移植】

Table2.

		血縁者間 骨髄移植		血縁者間末梢血 幹細胞移植		非血縁者間 骨髄移植		臍帯血移植		合計			
		n	%	n	%	n	%	n	%	n	%		
		患者数		23	52.3%	2	4.6%	9	20.5%	10	22.7%	44	100.0%
生着の有無 <sup>*1</sup>	無	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	2	20.0%	2	4.6%		
	有	23	100.0%	2	100.0%	9	100.0%	8	80.0%	42	95.5%		
aGVHD	無	14	60.9%	1	50.0%	6	66.7%	4	40.0%	25	56.8%		
	Grade I	5	21.7%	1	50.0%	2	22.2%	5	50.0%	13	29.6%		
	Grade II	3	13.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	10.0%	4	9.1%		
	Grade III	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%		
	Grade IV	1	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	2.3%		
cGVHD	無	21	91.3%	1	50.0%	7	77.8%	10	100.0%	39	88.6%		
	limited	2	8.7%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	2	4.6%		
	extensive	0	0.0%	1	50.0%	1	11.1%	0	0.0%	2	4.6%		
	評価不能	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%		
合併症	virus感染症	CMV感染症	無	7	30.4%	0	0.0%	5	55.6%	10	100.0%	22	50.0%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	16	69.6%	2	100.0%	4	44.4%	0	0.0%	22	50.0%
		その他virus感染症	無	6	26.1%	0	0.0%	5	55.6%	9	90.0%	20	45.5%
			有	1 <sup>*2</sup>	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	1 <sup>*3</sup>	10.0%	2	4.6%
			missing data	16	69.6%	2	100.0%	4	44.4%	0	0.0%	22	50.0%
	真菌感染症	カンジタ感染症	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	10	100.0%	40	90.9%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	0	0.0%	4	9.1%
		アスペルギルス感染症	無	23	100.0%	2	100.0%	4	44.4%	10	100.0%	39	88.6%
			有	0	0.0%	0	0.0%	1 <sup>*4</sup>	11.1%	0	0.0%	1	2.3%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	0	0.0%	4	9.1%
		その他真菌感染症	無	7	30.4%	0	0.0%	5	55.6%	10	100.0%	22	50.0%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	16	69.6%	2	100.0%	4	44.4%	0	0.0%	22	50.0%
		細菌感染症 <sup>*5</sup>	無	3	13.0%	0	0.0%	4	44.4%	6	60.0%	13	29.6%
			有	5	21.7%	0	0.0%	1	11.1%	4	40.0%	10	22.7%
			missing data	15	65.2%	2	100.0%	4	44.4%	0	0.0%	21	47.7%
	その他の合併症	間質性肺炎	無	23	100.0%	2	100.0%	6	66.7%	10	100.0%	41	93.2%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	3	33.3%	0	0.0%	3	6.8%
		ARDS	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	9	90.0%	39	88.6%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	10.0%	1	2.3%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	0	0.0%	4	9.1%
		出血性膀胱炎	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	10	100.0%	40	90.9%
			有	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	3	33.3%	0	0.0%	3	6.8%
		TMA	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	9	90.0%	39	88.6%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	10.0%	1	2.3%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	0	0.0%	4	9.1%
		VOD	無	23	100.0%	2	100.0%	6	66.7%	10	100.0%	41	93.2%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	3	33.3%	0	0.0%	3	6.8%
		BO	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	8	80.0%	38	86.4%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	2	20.0%	6	13.6%
		BOOP	無	22	95.7%	2	100.0%	5	55.6%	8	80.0%	37	84.1%
			有	1	4.4%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	2.3%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	2	20.0%	6	13.6%
		その他	無	23	100.0%	2	100.0%	3	33.3%	8	80.0%	36	81.8%
			有	0	0.0%	0	0.0%	2	22.2%	0	0.0%	2	4.6%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	2	20.0%	6	13.6%
		中枢神経障害	無	23	100.0%	2	100.0%	5	55.6%	8	80.0%	38	86.4%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	4	44.4%	2	20.0%	6	13.6%
二次がん	PTLD	無	23	100.0%	2	100.0%	8	88.9%	9	90.0%	42	95.5%	
		有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	10.0%	1	2.3%	
		missing data	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%	
		固形腫瘍	無	23	100.0%	2	100.0%	8	88.9%	10	100.0%	43	97.7%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%
		造血器腫瘍	無	23	100.0%	2	100.0%	8	88.9%	10	100.0%	43	97.7%
			有	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
			missing data	0	0.0%	0	0.0%	1	11.1%	0	0.0%	1	2.3%

※知能の回復の有無（移植前後の知能検査の結果）について、TRUMPIにて収集を行っていないため算出不能。

\*1 2回目の移植は全て生着有。

\*2 感染virus：EBV

\*3 感染virus：HPV-19

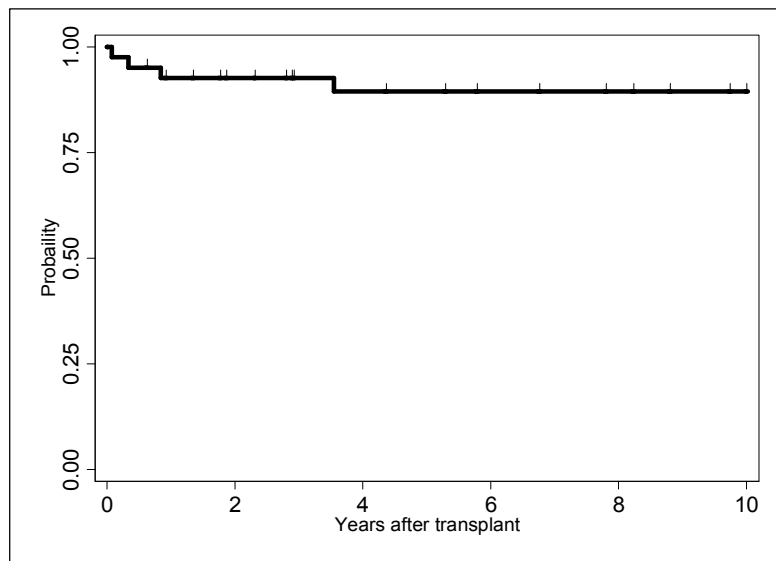
\*4 原因菌：未入力

\*5 細菌感染症の詳細：

敗血症(MRSA2例, Staphylococcus aureus1例, Streptococcus bovis1例, Pseudomonas aeruginosa1例)、肺炎(MRSA1例)、Febrile neutropenia(1例)、菌血症(MRSA1例, 不明2例)

【Hunter症候群における造血幹細胞移植】

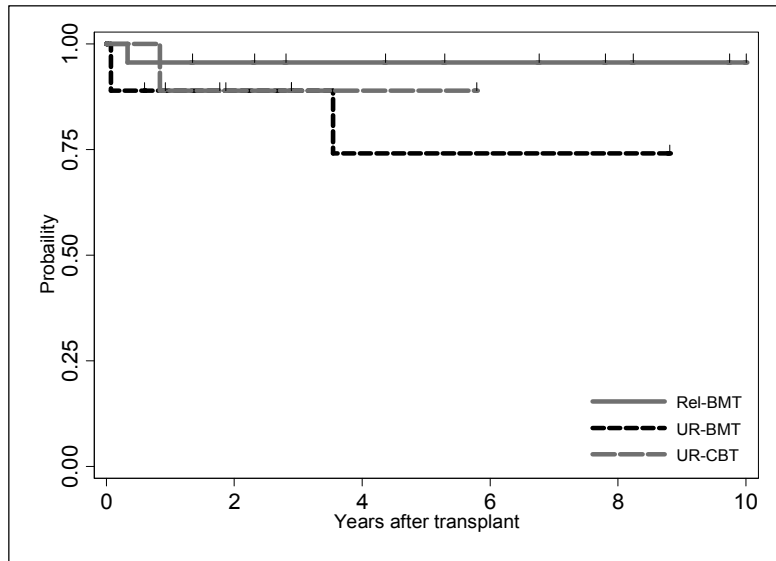
- 生存率（解析対象：初回移植例（41例）のみ）



Time	Survival Rate(%)	95%C.I.	n
1年	93%	( 79% - 98% )	37
3年	93%	( 79% - 98% )	30
5年	89%	( 74% - 96% )	28
7年	89%	( 74% - 96% )	25
10年	89%	( 74% - 96% )	20

【Hunter症候群における造血幹細胞移植】

● 移植種類別生存率（解析対象：初回移植例（41例）のみ）



Time	Rel-BMT(n=23)			UR-BMT(n=9)			UR-CBT(n=9)		
	Survival Rate(%)	95%C.I.	n	Survival Rate(%)	95%C.I.	n	Survival Rate(%)	95%C.I.	n
1年	96%	( 73% - 99% )	23	89%	( 43% - 98% )	8	89%	( 43% - 98% )	8
3年	96%	( 73% - 99% )	20	89%	( 43% - 98% )	7	89%	( 43% - 98% )	5
5年	96%	( 73% - 99% )	19	74%	( 29% - 93% )	6	89%	( 43% - 98% )	5
7年	96%	( 73% - 99% )	17	74%	( 29% - 93% )	6	89%	( 43% - 98% )	4
10年	96%	( 73% - 99% )	13	74%	( 29% - 93% )	5	89%	( 43% - 98% )	4