



日本肺胞蛋白症患者会

発行：日本肺胞蛋白症患者会 神奈川県平塚市豊原町30-13 電話：080-1247-1766
ホームページ：<http://pap-net.jp/>

患者会会報13号

The New England Journal of Medicineに掲載される 肺胞蛋白症に対するGM-CSF吸入療法 九月五日に厚労省にてプレスリリース

厚生労働省記者会見室で酵母由来組換えGM-CSF吸入の多施設共同医師主導治験」による成果が「The New England Journal」に掲載された事を中田教授から報告された。会場には共同通信社・TBSを初めとする報道各社が取材に訪れていた。今後は日本で製剤を作る企業を探す必要があるなど問題も山積みだ。

【新潟大医歯学総合病院 臨床研究推進センター 中田光教授を中心とする研究グループ（全国十二施設）は、指定難病である自己免疫性肺胞蛋白症の病因解明に基づく新しい治療法を開発した。

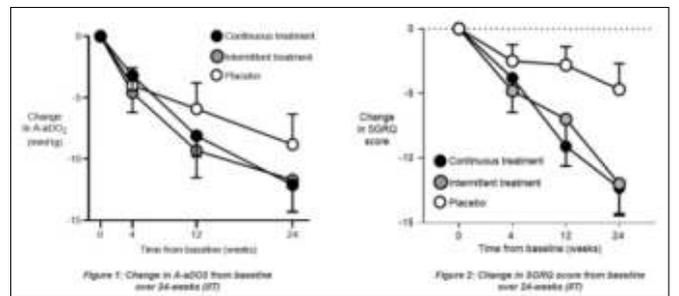
2016年から続けてきた日本医療研究開発機構難治性疾患実用化研究事業「自己免疫性肺胞蛋白症に対する酵母由来組換えGM-CSF吸入の多施設共同医師主導治験」による成果。【本研究成果のポイント】・指定難病自己免疫性肺胞蛋白症の病因解明、血清診断法開発、治療法開拓までを一貫して達成した。・自己免疫性肺胞蛋白症に対し、サイトカインであるGM-CSFを吸入すれば治療に効果があることを世界で初めて科学的に証明した。



現在、有効な治療法は患者への負担が大きい全肺洗浄法であるが、本研究成果は自宅で治療することができ、何よりも患者にとって負担の少ないことを特徴とした新しい治療法であると報告した。また、記者会見の進行は患者会代表の小林が行い、冒頭患者会の紹介や肺胞蛋白症が解明されていない現状を報告し治療の選択肢が増える期待を話した。

IMPALA治験結果

Savarataは、自己免疫性肺胞性肺タンパク症（aPAP）の治療を目的としたMoligradexの第3相試験であるIMPALAの中間結果を発表した。最



大のポイントはこの研究は、肺動脈酸素勾配（A-aDO2）の結果では、実薬と偽薬の間では有意差がなかった。しかし、主要な二次エンドポイントであるセントジョージの呼吸器アンケート（SGRQ）で統計的に有意な改善を示した。と報告されている。今後どのような方向性となって行くのか患者会としても見守って行くが是非発売までこぎつけてほしい。

eCOGLO サービュス停止

昨年総会にて承認され、年始の皆様様を願って登録をしていた患者会支援サービュス「eCOGLO」ですが、当会をはじめとする他の患者会での利用率が少なかつたことから、十月十五日をもってサービュスが廃止される事が通知されました。事務局の軽減や情報の共有、事務局強化を図ったのですが、残念の一言です。結果的に会員皆様にも多大な手間をおかけしたにも関わらず、この様な結果になった事を深くお詫びいたします。今後は、入会及び住所管理にしても小林の所有するクラウドにて管理を継続してゆきたいと思えます。しかしながら、会の継続性も考えどの様に会運営して言うて良いか判断の迷うところではあります。

