

じこめんえきせいはいほうたんぱくしょう  
『自己免疫性肺胞蛋白症に対するリューカイン吸入法の

とくていりんしょうけんきゅう  
特定臨床研究（ページ2試験）』のご協力についてのお  
話し



## 目次

1. はじめに.....	3
2. 研究の目的 .....	5
3. リューカイン吸入が安全であることについて .....	6
4. 研究の方法 .....	7
5. その他 .....	10
6. 問い合わせ先.....	11

## 1. はじめに

これから特定臨床研究（以下研究とします。）について説明します。

さまざまな病気の診断や治療は、長い期間をかけて進歩・発展してきました。このような診断や治療の方法の進歩・発展のためには、健康な人や患者さんをお願いしてその方法を試さなければならないことがあります。その中で国がきめた特別の研究を特定臨床研究とといいます。

これは、患者さんを始め多くの方々のご理解とご協力によって成り立つものですので、説明の途中で、わからないことや、研究に参加したくないと思ったら、いつでも言ってください。

この研究は、12歳以上の方をお願いしています。

未成年の患者さんが研究に参加する場合、※代諾者（保護者）の同意も必要です。

そのため、患者さんと代諾者の方それぞれに、研究の内容をお話します。

※代諾者：患者さんのご両親または、法律で決められている親権者（親の権利を持った人）を指します。

説明の途中でわからないことがあれば、担当医師や担当スタッフにきいてください。

どんな些<sup>さ</sup>細<sup>さい</sup>なことでも構いません。

また、研究の内容をお話し、参加するかどうか、あなたの考えを確認します。

無理にお願いをしていることはありません。

この研究に参加しなくても、不利な扱いを受けることはありません。

## 2. 研究の目的

あなたの病気は<sup>じこめんえきせいはいほうたんぱくしょう</sup>自己免疫性肺胞蛋白症<sup>1</sup>です。

一般的な治療法は、全身麻酔をかけて、肺を片肺ずつたぐさんの生理食塩水で洗浄する全肺洗浄とよばれる治療です。



患者さんにとって楽な治療として、ご自宅で GM-CSF（商品名リューカイン）と呼ばれる薬剤を溶かした液を 1 日 10～20 分かけて吸入する GM-CSF 吸入療法という治療が効くことがわかっています。



しかし、効き目が弱かったときに量を増やして吸入するとより効果が出るのかということは、今の段階では明らかではありません。

この研究では、250  $\mu\text{g}$  のリューカインを 1 日 1 回吸入する方法を 24 週間かけて調べます。その試験で、効き目が弱かった患者さんには、500  $\mu\text{g}$  のリューカインをさらに 24 週間追加で吸入治療していただきます。

効いた患者さんは、24 週間治療せずに様子をみます。この研究によって、GM-CSF（リューカイン）吸入療法のやり方を改良し、この病気がもっとよくなる可能性があります。

---

<sup>1</sup> 自己免疫性肺胞蛋白症・・・<sup>きかんし</sup>気管支の奥につづく<sup>はいほう</sup>肺胞と呼ばれる小さな袋に「サーファクタント」という物質が異常に<sup>ちまりゅう</sup>貯留して、空気中の酸素が血液に取り込まれにくくなる病気

### 3. リューカイン吸入が安全であることについて

リューカインは、25年以上前に血液中の白血球<sup>はっけつきゅう</sup>を増やす薬として発売されました。白血病やがんの治療を受けた後に、白血球<sup>はっけつきゅう</sup>の数が減ったのを元に戻す治療として使われてきました。

世界で、50万人以上の患者さんに使われましたが、大きな副作用<sup>ふくさよう</sup>はありませんでした。

自己免疫性肺胞蛋白症<sup>じこめんえきせいはいほうたんぱくしょう</sup>の患者さんに対しては日本で2000年に吸入で治療をする方法が試されて、患者さんが良くなりました。

それ以来、世界中で吸入治療が試されてきました。

吸入しても安全であるということはこれらの経験から明らかですが、人に近いサルに対して6ヶ月間リューカインの量を100倍まで増やしても重大な副作用が起こらないことが確認されています。

ただし、軽い寒気や頭痛、発熱が起こることもあります。（たいてい、1回～数回出るだけでおさまります。）

## 4. 研究の方法

この研究は、研究が開始されることが決まってから2025年3月31日までです。

吸入する期間は最長、48週間（約1年間）となります。

### \* 観察及び検査スケジュール表

項目	病院への受診と吸入と検査のスケジュールと内容				
	病院に 1回目の受診	病院に 2回目の受診	病院に 3回目の受診	病院に 4回目の受診	病院に 5回目の受診
吸入開始日からの週数	開始14日前から1 日前	12週 許容±1週間	24週 許容+2週間	36週 許容±3週間	48週 許容+4週間
1) 同意書にサイン	○				
2) 問診やこれまでの事	○	○	○	○	○
3) しんさつ	○	○	○	○	○
4) 酸素必要度	○	○	○	○	○
5) mMRC scale	○	○	○	○	○
6) 血液検査	○				
7) 動脈血採血	○		○		○
8) リューカインキットの 使用実感調査(アンケート)		○			

### スケジュール表の説明

- 1) 同意書にサイン：この研究の説明をしますので、ご理解いただけたら、同意書にサインをお願いします。研究への参加は自由です。
- 2) 問診やこれまでのことをきかれます：自分の具合について



(いつごろからどんな症状があったのかなど、特に息切れや、咳、痰など)、  
病歴 (肺胞蛋白症は、いつ頃診断されたか、他の合併症など) や日常生活等を伺います。

- 3) 脈拍、血圧、呼吸回数、体重の測定や視診 (顔や口の色をみます)、聴診 (胸の音を聞きます) です。1 回目の受診の時に身長を測ります。
- 4) 酸素必要度は、普段ご自宅で酸素を吸っているかどうか、吸っていたら何リットル吸っているかをききます。

**酸素必要度** (主として在宅酸素療法を受けている患者様用)

1. マスクで 4L/min 以上の酸素補給
2. 経鼻カニューレで 2L/min 以上の酸素補給
3. 経鼻カニューレで 2L/min 未満の酸素補給
4. 酸素補給を必要としないが、歩行や体動に際し息切れを感じる
5. 酸素補給を必要とせず、歩行や体動にも息切れを感じない

- 5) mMRC scale: 息切れの強さを示す指標で、息切れが強くなるにつれて、Grade0 から Grade4 まで分かれます。

**modified MRC dyspnea scale** (酸素療法を受けていない患者様中心)

- Grade0 : 強い労作で息切れを感じる
- Grade1 : 平地を急ぎ足で移動する、  
または穏やかな坂を歩いて登るときに息切れを感じる
- Grade2 : 平地歩行でも同年齢の人より歩くのが遅い、  
または自分のペースで平地歩行していても息継ぎのため休む
- Grade3 : 約 10 ヤード (91.4m) 歩行したあと息継ぎのため休む、  
または数分間、平地歩行したあと息継ぎのため休む
- Grade4 : 息切れがひどくて外出ができない、  
または衣服の着脱でも息切れがする

- 6) 血液検査 : 最初の受診日に白血球数、赤血球数などの血球数や肝臓、腎臓



の機能を調べます。

- 7) 動脈血ガス分析： 5分以上、安静にし、室内の空気を吸ってもらった状態で大腿部<sup>だいたいぶ</sup>、肘、手首などの動脈から動脈の血液を取ります。血液の中の酸素の量、炭酸ガスの量などを測ります。
- 8) リューカインバイアルと溶解液<sup>ようかいえき</sup>に溶かして、吸入器に移すためのキットの使用に関して使いやすさに関するアンケートにお答えいただきます。

## 5. その他

あなたに関する情報を提供するかは、あなたご自身と代諾者<sup>だいたくしゃ</sup>の方と決めてください。

「提供したくない」とお返事をされてもあなたが困るようなことは何も起こりませんのでご安心ください。また、「提供いただける」とお返事した場合でも、やっぱりやめたいと思った時には、いつでもやめることができます。

その時は、「<sup>どういてっかいしょ</sup>同意撤回書」（同意したのを取りやめにする書類）を書いて、担当の先生に渡してください。

以上で説明を終わります。もしわからないことがあったら、どんなことでも良いので担当の先生に聞いてください。

そして、保護者の方と相談の上、この研究に参加する場合は同意書に名前を書いてください。

## 6. 問い合わせ先

この研究でわからないこと、心配なことがありましたら、いつもで相談してください。

病院の名前と所属：福島県立医科大学附属病院 呼吸器内科

担当医の名前 谷野 功典 (たにの よしのり)

連絡先 Tel 024-547-1360 Fax 024-548-9366

以下の、肺胞蛋白症患者会サイトからも内容を確認することができます。

<https://pap-net.jp/info/1071/>