



みなさまの温かなお気持ちやご支援、いつもありがとうございます。

2024年度理事会と総会が6月14日（金）に開催され、2023年度の事業報告・決算報告と2024年度事業計画・予算案が承認されました。（事業報告と決算報告は4面に）

8周年記念イベントを8月10日（土）に開催します。会場は、ウイックあいちです。（詳細は、同封のチラシをご覧ください）

## 寄付



愛知県医師会交響楽団  
チャリティ演奏会から寄付金をいただきました。



公益財団法人毎日新聞大阪社会事業団から、2023年に引き続き寄付金をいただきました。

オンコロライブ・名古屋シティライオンズクラブ・江南ライオンズクラブ・稲沢ライオンズクラブのチャリティコンサートや弥富ライオンズクラブのチャリティマラソンから、寄付金をいただきました。

岡崎フォレスト・名古屋シニア・半田・武豊多治見・西尾東・安城・愛知グレース・刈谷・豊橋中・名古屋ウエスト・愛知ひまわり・名古屋太閤・名古屋徳川・名古屋中村・名古屋本丸・名古屋MJF・豊川中・豊川・豊田シニア・豊田・豊田東名・愛知中央・三好愛知ライオンズクラブからご寄付をいただきました。

## AYA 世代 日韓台交流事業

小児がん・血液疾患の体験者の10代から30代をAYA世代といいます。就職や進学、友人関係など若い世代ならではの悩みを意見交換する「クロワッサン」というグループを以前紹介しました。



コロナ禍前に企画していた日本と韓国との交流事業をやっと復活することができました。今回は台湾も加わり、3国の若者の交流事業になります。7月末に韓国小児がん基金の受け入れにより、開催されます。

病院見学やAYA世代の実態など、密な交流をしてくるはずで。

8周年記念イベントで報告します。

## 神経芽腫（しんけいがしゅ）に対するGD2- CAR-T 細胞療法について

名古屋大学小児科教授  
高橋義行

### 1. 神経芽腫とは？

神経芽腫は0-15歳までの固まりをつくる小児がん（小児固形腫瘍）のなかで最も頻度が高い腫瘍です。お腹にある腎臓の上に位置している副腎から発生することが多く、ついで背骨の横を走っている交感神経節から発生することがあり、お腹や胸の腫瘍として見つかることが多いです。発熱、不機嫌、骨の痛み、お腹が腫れる、時には眼が飛び出たような症状など、転移した場所によってさまざまな症状がきっかけで見つかります。

赤ちゃんの時に神経の元になる神経芽細胞ががん化したものと考えられていて、年齢は1歳未満または2-3歳をピークに見つかることが多いのですが、年齢が1歳未満で見つかる場合は予後が良い一

方で、1歳半以上で別の場所に転移している進行例や、腫瘍のMYCN遺伝子という部分に異常がある場合は生命予後が不良なので高リスク群として治療を強化しています。

## 2. 高リスク神経芽腫の標準治療と予後

神経芽腫の治療は、年齢、転移の有無、予後因子（MYCN遺伝子、病理分類）などを組み合わせ、3つのリスク（低リスク群、中間リスク群、高リスク群）に分類し、それぞれのリスクに分けて治療されています。低・中間リスク群の予後は約95%と良好で、腫瘍摘出外科療法または弱い抗がん剤の治療を行います。一方で高リスク群は、抗がん剤による治療（化学療法）、腫瘍を摘出する手術療法、大量の化学療法のあとに自分の血液を作る血液幹細胞を戻す自家末梢血幹細胞移植まで組み合わせ治療します。さらに残ってしまった腫瘍には放射線治療を行い、再発予防のための分化誘導療法の内服薬、GD2抗体治療などできる限りの治療を1年以上かけて行うことが一般的です。これらすべての治療をしても、5年以上再発なく根治が得られるのは約50%とされています。つまり半数程度の患者さんは再発してしまうのですが、再発した高リスク群の神経芽腫患者さんは、治すための治療法が世界中で確立されておらず、治すことはできないことを前提として痛みを抑える緩和目的の化学療法を行うことが一般的です。

## 3. GD2-CAR-T（カーティ）細胞療法とは？

近年、白血病や悪性リンパ腫では、骨髄移植後の再発例や、抗がん剤治療に抵抗例の患者さんに対して、患者さん自身の血液からリンパ球を分離し遺伝子操作をして、白血病を攻撃できるような細胞を作って患者さんに投与するCAR-T（カーティ）細胞が、欧米に続いて日本でも承認されています。このCAR-T細胞療法は、がんを免疫の力で治す「がん免疫療法」に分類されます。これまで世界で承認されたCAR-T細胞療法は、白血病などの血液腫瘍に限られていますが、固まりを作る固形がんに対しても様々なCAR-T細胞の研究開発が進められています。

2023年4月に、イタリアのローマにあるバンビーノ・ジェス病院から、再発・治療抵抗性高リスク神経芽腫に対するGD2-CAR-T細胞療法の治療

成績が報告されました。再発あるいは化学療法を受けるも寛解に至らなかった27人の神経芽腫患者を対象に、GD2-CAR-T細胞を投与したところ、9人で完全に腫瘍が消失し、他の8人でも50%以上の腫瘍縮小効果が得られました。特にGD2-CAR-T細胞を投与される際に、腫瘍がある程度少ない患者さんに限定すると、治療後3年再発せずに元気である確率が約60%と驚くべき治療成績であり、しかも治療に伴う副作用については27人全例で重篤なものはなかったという報告でした。本来は救命が困難な患者さんを対象としていながら、このGD2-CAR-T細胞療法の有効性と安全性の報告には世界中が驚きました。

## 4. 日本からイタリアへGD2-CAR-T細胞療法を受けに行かれた再発神経芽腫患者さん



名古屋大学病院で高リスク神経芽腫の治療を受けて再発してしまった9歳の女の子が、2024年3月にイタリアのバンビーノ・ジェス病院でGD2-CAR-T細胞治療を受けました。報告

にあるように再発した部分が少ない条件を満たしていたため、イタリアでGD2-CAR-T細胞治療を受けることができれば救命できる可能性が60%程度あるためです。

しかしながらイタリアで治療を受けるには、日本からの患者さんは医療保険制度を受けることができないため100%の医療費がかかります。患者さんのご両親に名古屋小児がん基金の小島先生にお会いしていただき、渡航治療の一部を基金から支援していただけたので、イタリアでのCAR-T細胞治療を申し込みつつ、ご家族が残りの金額をクラウドファンディングで一般の方から寄付を募ったところ幸運にも支援が集まり、今回のイタリアでの治療が実現することができました。

## 5. なぜ日本の患者さんが海外に治療を受けに行く必要が？

本当は、日本でGD2-CAR-T細胞治療が受けられたら、イタリアの病院に行って治療する必要はありません。なぜ日本の患者さんが治療のために海外に行く必要があったのでしょうか？

米国や欧州など海外では使える薬や治療が、日本ではまだ使えない問題を「ドラッグ・ロス」や「ドラッグ・ラグ」と呼ばれます。今回のGD2-CAR-T細胞も、日本人ではまだ一人も治療を受けた患者さんはいませんので、「ドラッグ・ロス」の状況と言えます。日本国内はもちろん、海外でも日本人の患者さんがGD2-CAR-T細胞治療を受けたのは、今回イタリアで治療を受けた女の子が初めてだと思います。名古屋大学小児科では、GD2-CAR-T細胞製剤を開発中で、試験管内やマウスでは神経芽腫細胞株を攻撃できるところまで開発が進んでいるのですが、まだ実際の患者さんに投与するには準備が足りておらず、今回の患者さんに間に合わせることはとてもできませんでした。

今回、イタリアで治療した患者さんのおかげで、バンビーノ・ジェス病院を訪問して、CAR-T細胞製造施設の見学をし、フランコ・ロカテリ教授と面談して日本のGD2-CAR-T細胞治療開発や承認に協力をお願いすることができました。1日でも早く日本でGD2-CAR-T細胞治療が実現できるように引き続き努力していきます。

名古屋小児がん基金のご支援にこの場をお借りして感謝申し上げます。



## Nanopore ロングリードシーケンサー

名古屋大学小児科  
村松秀城

名古屋大学小児科では、小児血液・小児がんを対象にした次世代シーケンサーを活用した研究を継続して行っています。

これまで、イルミナ社の次世代シーケンサーを用いて、遺伝性骨髄不全症候群のターゲットシーケンス解析、若年性骨髄単球性白血病・急性リンパ性白血病・小児固形腫瘍の全エクソームシーケンス解析・RNAシーケンス解析などを行い、病態解明研究を進めてきました。イルミナ社の次世代シーケンサーでは、まずDNA断片の増幅を行い、同一DNA断片が集まった「かたまり（クラスター）」を形成させます。この状態で、蛍光標識したヌク

レオチドを1塩基ずつ伸長させていきます。この様子をカメラで撮影することによって、大量のクラスターの塩基配列を並列に特定します。超大量の遺伝子配列を非常に正確に読み取ることができるため、我々のグループのみならず、世界中で最も汎用されている次世代シーケンサーです。

今回、名古屋小児がん基金からのサポートを得て、Oxford NANOPORE Technologies社の「ナノポアシーケンサー」という新しいタイプのシーケンサーを購入することが出来ました。

この「ナノポアシーケンサー」は、研究でも臨床でも最も広く使われてきたイルミナ社の次世代シーケンサーとは全く異なる方法で遺伝子配列を読みます。具体的には、専用のチップ上に配置された「非常に微小な穴(nanopore・ナノポア)」にDNA分子が通る時に発生する電位が、遺伝子配列(A(アデニン), G(グアニン), C(シトシン), T(チミン))の違いにより、僅かに変化することを検出することで遺伝子配列を決定します。イルミナ社のシーケンサーと違い、非常に長い遺伝子配列を読むことができることから「ロングリードシーケンサー」に分類されます。以前から期待されていた方法なのですが、シーケンスエラーが高頻度起きてしまうことから臨床的なシーケンスとしては使いにくいと考えられてきました。

しかしながら、近年の技術開発により、最新機種では、ナノポアシーケンスの精度が抜群に高まったこと、adaptive sequenceという技術の実用化により、興味のある遺伝子だけを選択的に読むことができるようになりました。ナノポアシーケンスの元来の性質として、DNA分子を直接シーケンスするために、事前の検体処理が非常に簡便であり、比較的速やかにシーケンス結果が得られることから、ベッドサイドで用いるクリニカルシーケンサーとして急激に期待が高まっています。更には、メチル化シトシンと非メチル化シトシンの電位変化も峻別できることから、通常の遺伝子配列情報と同時に遺伝子メチル化の評価も可能です。今後、この新しいシーケンサーが持つこれらの特徴を活かしたクリニカルシーケンスの評価を進めていきたいと考えています。



## 2023年度事業報告&決算報告

### (1) 小児がん患者における新規診断法や治療法の開発への支援

名古屋大学・名古屋市立大学・藤田医科大学における小児がん患者に対する次世代シークエンサー更新費用・遺伝子診断費用（保険適応外）を支援しました。引き続き支援する予定です。

### (2) 患者・患者家族への経済的支援

保険適応外薬剤の購入費用を支援しました。神経芽腫が再発した患者のローマでの治療を支援しました。

### (3) アジアの発展途上国における小児がんに関わる医療従事者や患者への支援

イラクとベトナム医師の最新の骨髄移植技術研修を支援することができ、現地での骨髄移植による小児がんの子どもの救命に貢献することができました。引き続き、支援する予定です。

#### 基盤事業として

名古屋小児がん基金の財政基盤を確立し、愛知県内における基金の認知度を高めるためにニュースレターやチラシを作成し、支援者に送付し、延べ858件の寄付金を振り込んでいただきました。マンスリーサポーターも増えています。

HPやメルマガを通じて、小児がんの治療法の最新情報や基金の活動を広報しました。

ライオンズクラブ国際協会 334-A 地区のご協力のもと、講演会やチャリティイベントや募金活動を通じて、活動を訴えることができました。

## 収支報告

項目	決算額	予算	備考
収入			
受取会費	45,000	45,000	
受取寄付金	80,509,048	87,000,000	
前年度繰越金	28,669,717	28,669,717	
収入合計	109,223,765	115,714,717	
支出			
1)交通費	157,390	60,000	ボランティア交通費
2)研究助成	54,818,544	50,000,000	研究開発助成・遺伝子診断費用・患者および家族への経済的援助など
3)飲食費	19,260	25,000	イベントボランティア弁当
4)広報	1,339,169	900,000	パンフレット・チラシ・ニュースレター制作費 イベント会場費・設備費等
5)事務用品	146,398	100,000	プリンターインク・封筒類
6)通信費	92,771	100,000	電話代・インターネット代
7)送料	290,921	350,000	切手・宅配便
8)振込手数料	45,390	35,000	
9)給与	672,000	672,000	事務局
10)租税公課	72,972	80,000	市民税・県民税
11)家賃	863,214	842,160	
12)電気料金	94,160	110,000	
13)雑費	142,600	100,000	登記代・謄本代など
14)火災保険	0	0	2年ごと
15)準備金	31,310,423	50,000,000	
16)次年度繰越	19,158,553	12,340,557	
支出合計	109,223,765	115,714,717	

### 一般社団法人 名古屋小児がん基金

〒460-0012 名古屋市中区千代田 5-11-33

ST PLAZA TSURUMA 本館4B

TEL&FAX 052-263-6995

E-mail info@npcf.or.jp

<寄付金振込口座>

ゆうちょ振込口座 00820-9-153642

三菱UFJ銀行 鶴舞支店 普通口座 0199757

