

# ゾルゲンスマ導入に関する 具体的な問題点とその対応

2021年6月25日

国立成育医療研究センター

神経内科 大橋 瑛梨

# AGENDA

- \* 当院の症例提示
- \* 具体的な問題点
  - ・ 投与前の問題
  - ・ 投与以降の問題
- \* まとめ

# 症例：SMA1型の8ヶ月女児

## 【経過】

周産期・出生に異常なし

生後3ヶ月 下肢挙上困難・経時的な体幹の不安定さ

生後7ヶ月 東京女子医科大学でSMAと診断

生後8ヶ月 ゾルゲンスマ投与目的に当院に紹介

## 【遺伝子検査】

SMN1遺伝子 0コピー、SMN2遺伝子 3コピー

# 症例：SMA1型の8ヶ月女児

## 【ADL】

運動発達：頸定○ 抗重力運動はできない

精神発達：年齢相当で人見知りが始まった

呼吸：自発呼吸

食事：完全母乳（哺乳瓶は全く飲めない）

経口摂取可能

# 入院日程

February 2 令和3年  
2021

日	月	火	水	木	金	土
31	1 先勝	2 友引	3 先負	4 仏滅	5 大安	6 赤口
7 先勝	8 友引	9 先負	10 仏滅	11 大安 建国記念の日	12 先勝	13 友引
14 先負	15 仏滅	16 大安	17 赤口	18 先勝	19 友引	20 先負
入院				カルタ ヘナ法	シミュ レーション	
21 仏滅	22 大安	23 赤口 天皇誕生日	24 先勝	25 友引	26 先負	27 仏滅
28 大安	1	2	3	4	5	6

## 【投与前に行ったこと】

- \* 病棟・看護師への  
**カルタヘナ法の周知**
- \* **病棟マニュアル**の作成  
(看護師用・医師用)
- \* 薬剤作成～投与の  
**シミュレーション**
- \* 投与2週間前からの  
事前入院

# カルタヘナ法と病院の感染管理の認識の乖離

## アデノ随伴ウイルス（＝聞きなれない）

- ① 病原性が低く非増殖性
- ② 投与後24時間以降はウイルス排泄が著名に低下
- ③ アルコールで不活化できない



感染対策は「**通常**の病院運用で」＝存在しない

### 【当院の事前の対策】

- ・ 担当病棟の看護師・担当医に向けた**カルタヘナ法の周知と確認**
- ・ **医師・看護師・感染制御チーム**による病棟運用の話し合い

カルタヘナ法を遵守した上での事前に**当院のマニュアルを作成**

# 【事前に作成したマニュアルの抜粋】

やや過剰な対策！

	投与24時間以内	投与24時間以降 (~2週間)
対策	コロナ感染対策 Full PPE	アデノウイルスに準じた対策 ピンクエプロン+マスク+手袋
哺乳 食事	使い捨て乳首 使い捨て食器	使い捨て乳首・母面会時のみ直母 使い捨て食器
抱っこ 物品	禁止 次亜塩素酸消毒	可能 次亜塩素酸消毒
清拭	投与前に済ませ 24時間以内は行わない	ベット上での清拭 3週目~個室内のシャワーのみ
部屋	個室管理	個室管理 3週目~個室外の移動禁止

# カルタヘナ法と病院の感染管理の認識の乖離

感染対策は「**通常の病院運用で**」 = **過剰な対策・病院間の差**

## 【過剰な対策のデメリット】

- ・ コロナ禍での限られた医療資源
- ・ コスト（PPE・使い捨て乳首/食器）
- ・ 患者の負担（有料個室・シャワー禁）
- ・ 医療者間の認識のばらつきによる病棟運営上の問題



**具体的で統一性のある病棟運用基準が必要**



## 事前入院のメリット

- \* 患者が病院生活・医療者に慣れることができた
  - \* PPE（ブルーエプロン・帽子・アイシールド・マスク）に慣れることができた
- 実際：母が投与数日前から児の前でPPEを着用
- \* 完全母乳から哺乳瓶、使い捨て乳首の練習ができた

# 投与～投与後の日程

March 3<sup>令和3年</sup> 2021

日	月	火	水	木	金	土
28	1 赤口	2 先勝	3 友引	4 先負	5 仏滅	6 大安
	転棟		投与			
7 赤口	8 先勝	9 友引	10 先負	11 仏滅	12 大安	13 友引
肝機能障害						
14 先負	15 仏滅	16 大安	17 赤口	18 先勝	19 友引	20 先負 春分の日
肝機能障害						
転棟			カルタ ヘナ法			
21 仏滅	22 大安	23 赤口	24 先勝	25 友引	26 先負	27 仏滅
肝機能障害						
28 大安	29 赤口	30 先勝	31 友引	1	2	3
肝機能障害			退院			

## 【投与の実際】

- \* 朝11時に調剤開始  
実際の投与は13時
- \* 前日にルートを取っており  
投与はスムーズだった
- \* 4人部屋を使用したため  
大人5人（医療者+母）でも  
作業がしやすかった
- \* 投与中抱っこができず苦戦

# 投与後の日程

March 3<sup>令和3年</sup> 2021

日	月	火	水	木	金	土
28	1 赤口	2 先勝	3 友引	4 先負	5 仏滅	6 大安
	転棟		投与			
7 赤口	8 先勝	9 友引	10 先負	11 仏滅	12 大安	13 友引
肝機能障害						
14 先負	15 仏滅	16 大安	17 赤口	18 先勝	19 友引	20 先負 春分の日
肝機能障害						
転棟			カルタヘナ法			
21 仏滅	22 大安	23 赤口	24 先勝	25 友引	26 先負	27 仏滅
肝機能障害						
28 大安	29 赤口	30 先勝	31 友引	1	2	3
肝機能障害			退院			

## 【投与後の実際】

- \* 予想以上に哺乳瓶で飲めず補液を要した
- \* 肝機能障害の遷延
- \* 病棟転棟のため再度カルタヘナ法の周知が必要だった

# ゾルゲンスマにおけるSMA患者特有の問題

食事面

年齢

薬剤の  
副作用

正常な  
精神発達

# ゾルゲンスマにおけるSMA患者特有の問題

## 食事面

### 哺乳

- ・ 完全母乳  
→ 哺乳方法の模索

### 離乳食

- ・ 食器の問題
- ・ 座位保持困難  
→ ラック、座椅子使用  
広がる感染対策

## 年齢

### 正常な 精神発達

### 人見知り

- ・ 新生児期と乳児期
- ・ 手作り玩具
- ・ 母の抱っこ
- ・ 医療者、医療器具  
環境に慣れる工夫

## 薬剤の 副作用

### 肝機能障害

- ・ 年長児で頻度が増加
- ・ 採血頻度の増加
- ・ 入院期間の延長

# ゾルゲンスマにおけるSMA患者特有の問題

## 食事面

### 哺乳

- ・ 完全母乳  
→ 哺乳方法の模索

### 離乳食

- ・ 食器の問題
- ・ 座位保持困難  
→ ラック、座椅子使用  
広がる感染対策

## 年齢

### 正常な 精神発達

### 人見知り

- ・ 新生児期と乳児期
- ・ 手作り玩具
- ・ 母の抱っこ
- ・ 医療者、医療器具  
環境に慣れる工夫

## 薬剤の 副作用

### 肝機能障害

- ・ **年長児で頻度が増加**
- ・ **採血頻度の増加**
- ・ 入院期間の延長

# 実際の採血頻度

March 3 令和3年 2021 ○採血

日	月	火	水	木	金	土
28	1 赤口	2 先勝	3 友引	4 先負	5 仏滅	6 大安
転棟		投与				
7 赤	8 先	9 友引	10 先負	11 仏滅	12 大安	13 友引
肝機能障害						
14 先負	15 仏滅	16 大安	17 赤口	18 先勝	19 友引	20 先負 春分の日
肝機能障害						
転棟			カルタヘナ法			
21 仏滅	22 大安	23 赤口	24 先勝	25 友引	26 先負	27 仏滅
肝機能障害						
28 大安	29 赤口	30 先勝	31 友引	1	2	3
肝機能障害			退院			

## ■ 検査スケジュール

検査項目	ベースライン	投与後期間												
		1ヵ月				2ヵ月				3ヵ月				
		第1週	第2週	第3週	第4週	第5週	第6週	第7週	第8週	第9週	第10週	第11週	第12週	
肝機能検査	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
心筋トロポニンIの測定	●	●	●	●	●			●						●
血小板数の測定	●	●	●	●	●	●		●		●		●		●

# 採血や検査に関すること

## 採血について

- \* 1歳前後の小児の採血量は最低限にしたい

例) トロポニンIは血液量1.5ml必要 + 外注(紙伝票)

可能ならばコマーシャルベース (トロポニンTなど) の検査へ

- \* AAV9抗体を投与前後で測定できないか

→ 肝機能障害の免疫的な機序の考察

## 検査について

- \* 事前に心臓、腹部の画像検査による評価を統一化する方が投与後の事象と比較しやすいのではないか



# ゾルゲンスマ投与に関する具体的な問題点とその対応 まとめ

- \* 医療スタッフへのカルタヘナ法の周知と過剰になりすぎない統一された病棟運用の基準が必要である
- \* SMAの疾患特徴や患者の年齢によって個々に対応を変える方が良い
- \* 検査面（血液検査・画像検査）については今後症例数の増加を考慮し 検討の余地がある