

研究名： 小児急性骨髄性白血病における再移植の再評価

1．研究の目的

近年、再発難治急性骨髄性白血病（AML）に対する治療戦略は脱メチル化薬や FLT3 阻害薬などの登場によって大きく変化しつつあります。こうした新規薬剤は、再発難治症例に対しては同種造血細胞移植（allo-HCT）後維持療法としての使用も近年試み出されており、近い将来、その意義が明らかになると考えられます。

本研究では、我が国の小児 AML 治療において、初回 allo-HCT 後再発した患者に対する 2 回目 allo-HCT の治療成績を最新のデータを用いて解析することで、その臨床的意義を再評価することを目的としています。その結果、今後、脱メチル化薬や FLT3 阻害薬が小児 AML に用いられるようになった時代の治療成績と比較するデータを提供できることが期待されます。

2．研究の方法

研究期間：倫理審査委員会承認後から 2023 年 12 月 31 日迄

具体的な手順・方法：日本造血・免疫細胞療法学会および日本造血細胞移植データセンターから提供されたデータセット（TRUMP データ）を用いて、以下の統計学的解析を行います。

2 回目移植日を起算日とした全生存率、無病生存率、再発率、非再発死亡率、急性移植片対宿主病（GvHD）発生率、慢性 GvHD 発生率、初回移植後再発日を起算日とした全生存率対象となる患者さん：TRUMP データの情報内で、AML に対して初回 allo-HCT を受けた後に原病再発し、2 回目 allo-HCT を受けた患者さんの内、2 回目移植が 2011 年 1 月から 2020 年 12 月に実施され、2 回目移植時の年齢が 15 歳までの患者さんをメインの対象とします。また、このメインの対象と比較するために、TRUMP データの情報内で、AML に対して初回 allo-HCT を受けた後に原病再発し、2 回目 allo-HCT を受けなかった患者さんの内、初回移植が 2009 年 1 月から 2020 年 12 月に実施され、初回移植時の年齢が 15 歳までの患者さんをコントロールの対象とします。

3．研究に用いる情報の種類

メインの対象となる患者さんの背景情報：初発時年齢、性別、初回移植理由、初回移植時病期、2 回目移植時病期、初発時細胞遺伝学的異常、移植後再発時細胞遺伝学的異常、初回移植日～初回移植後再発日、初回移植後再発日～2 回目移植日、初回移植日～2 回目移植日、初回移植前処置/ドナーソース/GvHD 予防方法、2 回目移植前処置/ドナーソ

ース/GvHD 予防方法、初回移植後ドナーリンパ球輸注 (DLI) の有無、2 回目移植後 DLI の有無
コントロールの対象となる患者さんの背景情報：初発時年齢、性別、初回移植理由、初回移植時病期、初発時細胞遺伝学的異常、初回移植日～初回移植後再発日、初回移植前処置/ドナーソース、DLI の有無
移植経過：生着の有無、生着日、急性 GVHD・慢性 GVHD の有無、再発・非再発死亡の有無、生存情報、最終観察日

患者さんの氏名など、本人を特定出来る一切の個人情報には調査対象ではなく、個人情報は保守されます。

4 . 情報の公表

研究内容は学会発表(日本小児血液・がん学会学術集会)や学術論文の形で公表する予定です。

5 . 研究実施機関

国立成育医療研究センター

6 . お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としないので、移植を受けた施設にその旨をお伝えください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

照会先：

国立成育医療研究センター 小児がんセンター 移植・細胞治療科 坂口大俊
住所：〒157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1
電話：03-3416-0181 (内線：7652)

研究への利用を拒否する場合の連絡先：

移植を受けた医療機関に直接ご連絡下さい。

研究責任者：

国立成育医療研究センター 小児がんセンター 移植・細胞治療科 坂口大俊