

研究名： 小児造血細胞移植におけるステロイド急性抵抗性移植片対宿主病の予防・診断・治療に関する単一施設後方視的解析

1．研究の目的

急性移植片対宿主病 (acute graft-versus-host disease, aGvHD) は同種造血細胞移植後の予後や生活の質に大きく影響する主要な移植合併症です。aGvHD の一次治療はステロイド投与が基本となりますが、ステロイド抵抗性 aGvHD (SR-aGvHD) に対してはヒト間葉系幹細胞製剤 (®テムセル) などが投与されるものの、その治療方法はまだ確立していません。本研究では、同種造血幹細胞移植を受けた小児患者での SR-aGvHD の発生率・重症度・治療方法・治癒率などを明らかにすることを目的とし、小児における SR-aGvHD の治療法確立に資するエビデンス (科学的根拠) の創出が期待されます。

2．研究の方法

研究対象：当センターにて 2013 年 1 月から 2022 年 12 月の期間に同種造血細胞移植を実施された方

研究期間：倫理審査委員会承認後～2025 年 3 月

研究方法：診療録から情報を取得して、SR-aGvHD 発生率、SR-aGvHD を発症した患者さんの移植関連死亡の発生率・全生存率・SR-aGvHD 重症度・SR-aGvHD 治癒率、同じ期間の全体の移植関連死亡率と全生存率、亡くなられた患者さんの死因、SR-aGvHD 治療方法について解析します。

3．研究に用いる情報の種類

対象期間中の全ての患者さんについて収集する項目

患者情報...性別、人種、移植時年齢、血型、主疾患、移植時病期、基礎疾患、移植時 PS、HCT-CI、肝炎ウイルス

移植情報...移植回数 (2 回目以降の移植の場合、その理由)、ドナーソース、ドナー情報 (血型、性別)、前処置、GvHD 予防方法

移植経過...生着、生着日、grade 2 以上 aGvHD 発生の有無、grade 2 以上 aGvHD 発生日、grade 3 以上 aGvHD 発生の有無、grade 3 以上 aGvHD 発生日、SR-aGvHD 発生の有無、SR-aGvHD 発生日、limit-extensive cGvHD 発生の有無、limit-extensive cGvHD 発生日、extensive cGvHD 発生の有無、extensive cGvHD 発生日、原疾患の再発/再燃の有無、再発/再燃日、二次がん発生の有無、二次がん発生日、転帰、最終観察日、死亡例では死因

対象期間中の SR-aGvHD と診断された患者さんについて収集する項目

SR-aGvHD 重症度...診断時および診断後 28 日目までの再増悪時の重症度

SR-aGvHD 治療...2 次治療薬投与の有無とその名称、2 次治療薬投与開始日、2 次治療薬投与量、2 次治療薬投与終了日、2 次治療薬投与終了理由

SR-aGvHD の転帰...SR-aGvHD 診断後 28 日目の判定、SR-aGvHD 診断後 100 日目の判定

患者さんの氏名など、本人を特定出来る一切の個人情報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・がん学会や欧州造血細胞移植学会など）や学术论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 小児がんセンター

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、**2023 年 8 月 31 日までに**下記の連絡先までお申出ください。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。

照会先および研究への利用を拒否する場合の連絡先：

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