

研究名： プリナツモマブ治療後に同種造血幹細胞移植を施行した再発・難治性 B 細胞性急性リンパ性白血病の臨床アウトカム：日本における造血細胞移植登録一元管理プログラム（TRUMP®）レジストリデータ及びその二次調査による後方視的観察研究

1 . 研究の目的

本研究は、日本造血・免疫細胞療法学会（JSTCT）及び日本造血細胞移植データセンター（JDCHCT）が実施している全国調査で収集する造血細胞移植登録一元管理プログラム（TRUMP®）のデータベースを用いた後方視的観察研究です。再発難治性 B 細胞性急性リンパ性白血病（B-ALL）の患者さんのうち、プリナツモマブ（略称 BLN、商品名ピーリンサイト）で治療された後に、同種造血幹細胞移植を受けた方の安全性および有効性を評価することを目的としています。これによって、移植前の BLN の使用の最適化に寄与することが期待されます。

2 . 研究の方法

研究対象：以下の BLN 群とヒストリカル参照群を対象とします。

1. BLN 群

本研究へ参加が得られた施設で TRUMP に登録されている患者さんのうち、下記の全ての条件を満たす患者さんを二次調査ステップ 1 の対象とし、二次調査ステップ 1 により同種造血幹細胞移植を受ける前に BLN の治療が確認された患者さんを、二次調査ステップ 2 の対象とします。

- B-ALL（フィラデルフィア染色体の有無は問いません）を主疾患として、2019 年 1 月 1 日から 2020 年 12 月 31 日の期間に日本国内で同種造血幹細胞移植が施行され、かつ TRUMP®に登録された患者さん
- 年齢は不問です
- 同種造血幹細胞移植の施行回数：不問（自家移植歴、同種移植歴有りも含めます）

2. ヒストリカル参照群

下記の条件を全て満たす患者さんを対象とします。

- B-ALL（フィラデルフィア染色体の有無は問いません）を主疾患として 2013 年 1 月 1 日から 2015 年 5 月 31 日の期間に日本国内で初回 allo-HSCT が施行され、かつ TRUMP®に登録された患者

- 年齢は不問です
- 同種造血幹細胞移植の施行回数：初回同種移植例(但し、自家移植歴は問いません)

3. 除外基準

どちらの群も下記の除外基準のいずれかに該当する患者さんは対象から除外します。

- 主疾患がリンパ芽球性リンパ腫の患者さん
- 全国調査への参加が不同意の患者さん
- 本研究への組入れに関してオプトアウトした患者(対象者から移植施設を通じて研究参加拒否の申し出があった患者)

研究期間：倫理審査委員会承認後～2027年12月31日(論文の公表まで)

二次調査実施期間：2023年6月1日～2024年3月31日

研究方法：

本研究は、JSTCT 及び JDCHCT が実施している TRUMP データベースを用いた後方視的観察研究です。本研究では、TRUMP の 2022 年度全国調査までに登録された患者さんの全国調査のデータを既存情報(2022年9月30日まで)として利用します。加えて、BLN 群については、本研究のための二次調査を行い、BLN 治療についての系統的な情報や関連する共変量の情報を既存カルテ情報(2024年3月31日まで)から収集します。二次調査は、TRUMP への参加施設のうち、本研究への参加協力が得られた施設へ依頼します。尚、本研究のために、新たな検査を行うことはありません。また、ヒストリカル参照群は、研究のための二次調査も予定しません。

収集した情報を元に、BLN 群の BLN 治療後、最初の同種造血幹細胞移植施行後 100 日までの非再発死亡率を主要評価項目として算出し、副次的評価項目としては、移植片対宿主病の発生、血液学的回復、サイトメガロウイルスの再活性化、二次性生着不全や類洞閉塞症候群などのその他の移植関連合併症の発生、全生存率、無白血病生存率、累積再発率などを算出し、BLN 群とヒストリカル参照群との比較を行います。

研究の枠組みについて

本研究は JSTCT および JDCHCT と BLN の販売企業であるアムジェン株式会社との産学協同研究として実施し、本研究にかかわる費用はアムジェン株式会社により負担されます。JSTCT の研究者(研究参加施設の研究者)の利益相反に関しては、所属施設の利益相反を管理する委員会が、JDCHCT の研究者の利益相反に関しては、JDCHCT の利益相反を管理する委員会が管理し、アムジェン株式会社の研究者の利益相反に関しては、アムジェン株式会社で管理します。

アムジェン株式会社の研究者は、研究計画書と解析計画書の作成段階と、統計解析結果を用いた報告書作成や学会発表・論文作成の段階で、JSTCT および JDCHCT の研究者とともに携わりますが、これらの段階でも最終承認は JSTCT に権限があります。また、研究の実施、データ収集、データの保有、統計解析の実施は、JSTCT および JDCHCT の研究者のみで行い、アムジェン株式会社の研究者が携わることはありません。

3 . 研究に用いる情報の種類

人口統計学的特性（診断時年齢、移植時年齢、性別など）、主疾患の特性（主疾患名、病型、診断時遺伝子変異、初回治療のレジメンなど）、移植前の治療（CD19 標的治療の情報、イノツツマブ投与情報、キメラ抗原受容体 T 細胞療法情報など）、BLN 投与情報（投与量、期間など）、移植前の MRD 判定情報、移植情報（回数、移植種類など）、移植前 PS、化学療法剤投与情報などに関するデータを全国調査のデータ及び二次調査より収集します。

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や学術論文の形で公表する予定です。

5 . 研究実施機関

東京女子医科大学 血液内科

研究代表者：篠原 明仁

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

研究責任者：坂口 大俊

一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター

研究責任者：熱田 由子

アムジェン株式会社 メディカルアフェアーズ本部

研究責任者：平松 且穂

その他、全国の移植施設の内、本研究への参加を表明し契約締結した施設

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、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。

当センターで対象期間に造血幹細胞移植を受けた患者さんのための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）

当センターの研究責任者：

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