

## 1996年から2010年までに慢性骨髄性白血病と診断された患者さんおよびその代諾者の方々へ

2017年4月17日

日本小児がん研究グループ

血液腫瘍分科会(JPLSG)CML委員会

委員長・研究代表者 谷澤昭彦(福井大学)

JPLSG慢性骨髄性白血病(CML)委員会では、今後のCMLにおける治療成績向上および治療に伴う合併症の軽減に役立てるために、1996年1月1日から2010年12月末日までに診断された診断時年齢20歳未満のCMLの患者さんについて、JPLSG参加施設(病院)に対して調査票を用いた調査を行いますのでお知らせいたします。

今回の調査では、対象となる方に関して既に存在する情報を調査しますが、対象となる方にとって新たな負担や制限が加わることは一切ありません。このような研究では、国が定めた倫理指針に基づき、対象となる方お一人ずつから直接同意を得るかわりに、研究の目的を含む研究の実施についての情報を公開することが必要とされています。

ご自身の情報を研究に使用してほしくないという場合や研究に関するお問い合わせなどがある場合は、施設担当医または研究代表者までお尋ねください。研究への参加を希望されない場合、研究結果の公表前であれば、研究期間内にご連絡いただいた時点より対象から除外いたします。なお研究不参加を申し出られた場合でも、なんら不利益を受けることはありませんのでご安心ください。

### 【研究課題名】

小児慢性骨髄性白血病の後方視的長期予後調査

### 【研究組織】

#### 1. 研究代表施設及び研究統括者

福井大学医学部附属病院 谷澤昭彦

日本小児がん研究グループ血液腫瘍分科会(JPLSG)CML委員会委員長

〒910-1193 福井県吉田郡永平寺町松岡下合月23-3

福井大学医学部がん専門医育成推進講座

Tel: 0776-61-3111(内線 2628) Fax: 0776-61-8880 E-mail: tanizawa@u-fukui.ac.jp

#### 2. 共同研究施設

慶應義塾大学病院 嶋田博之 ほか

日本小児がん研究グループ血液腫瘍分科会(JPLSG)参加施設 163 機関

### 【研究の背景と目的】

これまでの成人における多くの臨床研究の成果から慢性期CMLの初期治療としてはチロシンキナーゼ阻害薬(TKI)が標準治療と考えられ、骨髄移植などの造血幹細胞移植の対象は病状の進行した患者さんやTKI治療への反応が不良な患者さんに限定されてきています。一方、小児ではCMLの患者さんの発症数自体が多くないことから、国内外で臨床試験の成績が徐々に報告されるようになってきているものの、成人の成績に基づいて治療が行われているのが現状です。

TKIは標的であるCML細胞のみに効果を示すのではなく、標的外効果と呼ばれるCML細胞以外の臓器に及ぼす影響が避けられません。CML委員会では2007年と2011年に同様の調査を行い、成長障害について報告しました。CML委員会からの報告に加え、広く海外からも報告が蓄積されてきています。しかし、すべての副作用の発生機序の解明には至っておらず、成長期にある小児に関して標的外効果による長期的な影響についてはまだ明らかにはなっていません。

イマチニブをはじめとしたTKIは2000年代初めから使用されるようになり、当時治療を開始した患者さんの多くが10代後半から20歳を超える年齢になっています。TKIを継続している患者さんや、それ以前の治療の中心であった造血幹細胞移植を行った患者さんの現在の転帰、CMLの状態や治療内容、成長や社会生活の現状を調査することにより、CMLに対してTKI治療を継続した場合と造血幹細胞移植を行った場合の長期治療成績に加え、長期毒性の比較検討が可能になると考えられます。

臨床的所見や治療経過、長期毒性などを調査し、小児期に発症したCMLの長期的な全体像を明らかにし、今後の小児CMLの診療に役立てることを目的としています。

#### 【情報提供の方法】

JPLSG 参加施設において、1996年1月1日から2010年12月31日までに診断された診断時20歳未満のCMLの患者さんの中で、2011年実施の「小児慢性骨髄性白血病の臨床像に関する疫学調査 小児CML11」に登録が得られた患者さんについて、参加施設の協力が得られる場合は、調査票を用いて下記の項目について情報を収集させていただきたいと存じます。なお調査票は郵送にて提供していただきます。

なお、本調査は2017年4月～2018年6月の間に実施予定です。

#### 【調査項目】

診療の過程で収集された下記の情報

1. 基本情報（診療施設名称、性別、生年月日、診断年月日、最終観察日）
2. 治療内容  
2011年調査以降の病期進行・二次がん・生着不全・治療効果消失の有無とその内容  
2011年調査時以降の治療内容（薬剤名、造血幹細胞移植実施の有無と移植日）  
最終観察日での寛解状態および治療内容
3. 長期毒性  
最終身長到達の有無

身長および体重の推移

二次性徴の評価

就学・就労の状況

結婚・育児の状況

4. 合併症

最終観察日での全身状態に影響を及ぼしうる合併症の有無と種類

(心疾患、臓器障害など)

5. 転帰

最終観察日での生死(死因)、全身的な活動状態

**【研究計画書及び研究の方法に関する資料の入手・閲覧方法】**

本研究では、研究計画書及び研究の方法に関する資料に関しては、他の研究対象者等の個人情報及び知的財産の保護等に支障がない範囲内に限り入手又は閲覧が可能です。その入手・閲覧をご希望される際には研究代表者までご連絡下さい。

**【個人情報の開示等に関する手続き】**

診療施設が保有する個人情報のうち、本人の情報について、開示、訂正及び利用停止を希望される場合には各施設担当医にご連絡ください。