

**臨床試験概要**  
**JPLSG-AML-SCT15**

**1. 研究代表者(氏名、施設)**

矢部 普正 東海大学医学部基盤診療学系小児科学

**2. 研究事務局(氏名、施設)**

石田 宏之 京都市立病院小児科

梅田 雄嗣 京都大学大学院医学研究科発達小児科学

**3. 目的**

造血細胞移植は、小児急性骨髄性白血病（AML）治療の切り札の一つですが、急性期のみならず晩期の合併症の懸念もある治療法です。本試験では移植に伴う晩期合併症を軽減するために、第1寛解(CR1)を維持している高リスク(HR)群のAML症例および第2寛解(CR2)を維持しているAML症例に対する初回移植として、骨髄破壊強度を保ちつつ高線量の全身照射(TBI)とブスルファン（Bu）を避けたフルダラビン（Flu）・シタラビン(Ara-C)・メルファラン(Mel)・低線量全身照射を用いた強度減弱前処置(FLAMEL)の安全性と有効性、および晩期合併症の評価を目的とします。なお、試験アーム以外に、安全性と有効性の比較対象として従前の骨髄破壊的前処置（MAC）を施行された方も登録対象となります。

**4. 対象**

下記すべてを満たしている症例

- 1) AML(ただし、急性前骨髄球性白血病（APL）、ダウン症候群に発症した全てのAML、二次性AML、骨髄異形成症候群（MDS）より進展したAML、NK/myeloid leukemia、および顆粒球肉腫は除く)と診断された症例
- 2) 日本小児白血病リンパ腫研究グループ（JPLSG）の前方視的研究(JPLSG-CHM-14)に登録がなされた症例
- 3) 初発AMLに対する化学療法が施行され、CR1を維持している高リスク症例\*、または初回骨髄再発（髄外同時再発を含む）したAMLに対し化学療法にてCR2を維持している症例
- 4) 初発時(AML診断時)年齢が18歳未満の症例

- 5) 再発症例については、再発時(AML 再発診断時)年齢が 20 歳未満の症例
- 6) 本試験参加について本人および/又は代諾者から文書で同意（アセントも含む）が得られた症例
- 7) 造血細胞移植の適応があると考えられる症例

\*高リスク群の定義

<AML-20 登録開始前>

- ① 初発診断時検査にて

モノソミー7,

5q-,

t(16;21)(p11;q22)/FUS-ERG,

t(9;22)(q34;q11.2)/BCR-ABL1,

t(6;11)(q27;q23)/MLL-MLLT4(AF6),

FLT3-ITD, NUP98-NSD1

のいずれかが陽性。

または

- ② 寛解導入療法 1 後の骨髄芽球比率が 5%以上(M2/M3 marrow)または髄外浸潤陽性の症例

<AML-20 登録開始後; 2021 年 5 月 10 日以降>

- ① 初回寛解導入療法後非寛解症例。
- ② 非 CBF-AML のうち、細胞遺伝学的高リスク因子がなくかつ初回寛解導入療法後の MRD が 0.1%以上の症例。
- ③ 非 CBF-AML のうち、細胞遺伝学的高リスク因子を有する症例。

※細胞遺伝学的高リスク因子：

モノソミー7,

モノソミー5/5q-,

inv(3)(q21q26.2)または t(3;3)(q21;q26.2),

FLT3-ITD 陽性 (ただし CBF-AML は除く),

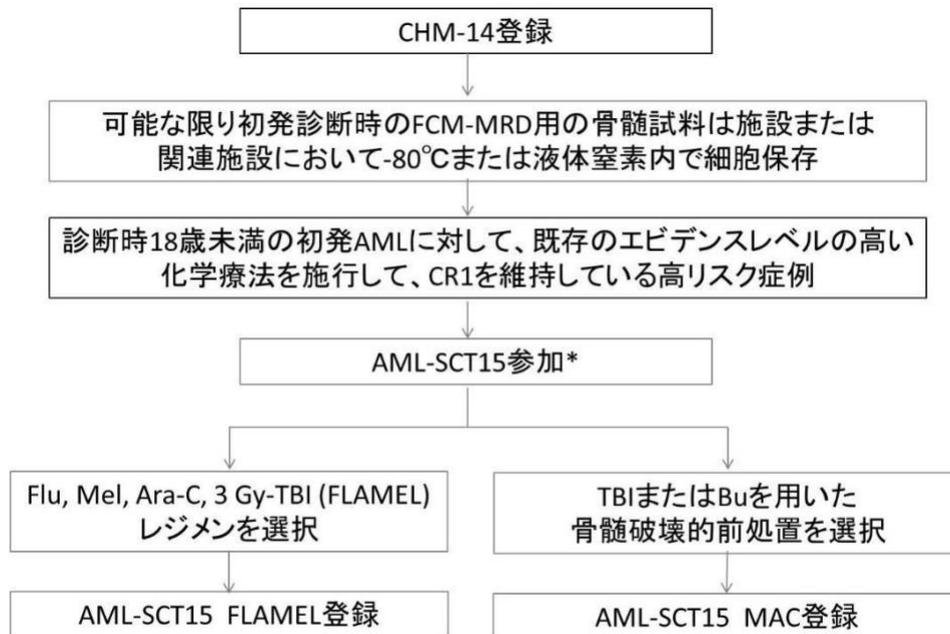
t(9;22)(q34;q11.2)/BCR-ABL1,

高リスク KMT2A 再構成 [t(4;11)(q21;q23.3)/KMT2A-AFF1,

(6;11)(q27;q23)/KMT2A-AFDN, t(10;11)(p12;q23)/KMT2A-MLLT10],  
 t(6;9)(p23;q34)/DEK- NUP214,  
 t(7;11)(p15.4;p15)/NUP98-HOXA9,  
 t(5;11)(q35;p15.5)/NUP98-NSD1,  
 t(11;12)(p15;p13)/NUP98-KDM5A,  
 inv(16)(p13.3q24.3)/CBFA2T3-GLIS2,  
 t(16;21)(p11.2;q22.2)/FUS-ERG,  
 t(7;12)(q36;p13)/MNX1-ETV6,  
 t(10;11)(p12-13;q14- 21)/PICALM-MLLT10,  
 TBL1XR1-RARB

5. 治療

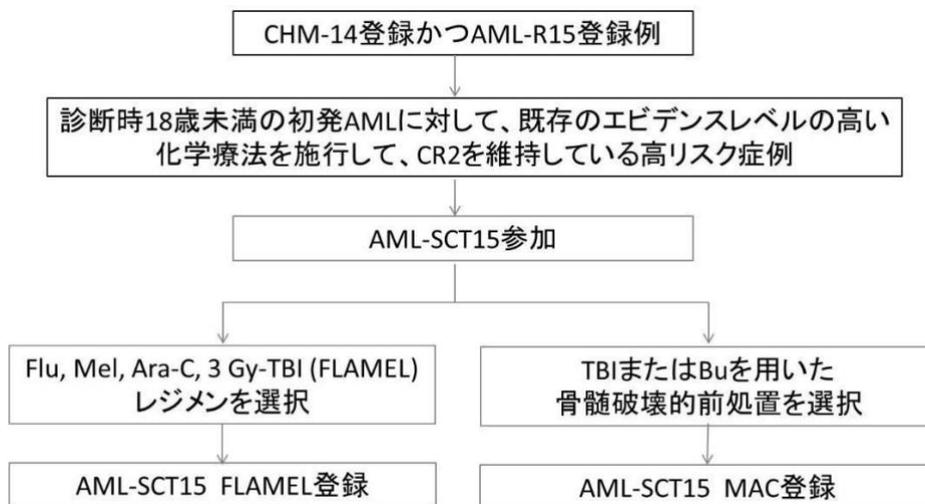
初発例



\*試験登録後速やかに初診時試料を送付

FCM-MRD：フローサイトメトリーを用いた測定可能残存病変

再発例



FLAMEL 前処置

Day	-9	-8	-7	-6	-5	-4	-3	-2	-1	0(SCT)
Flu	●	●	●	●						
AraC	▲	▲	▲	▲						
Mel					◆	◆	◆			
TBI									↓	
移植										☆

- ① Flu: day-9からday-6まで 30 mg/m<sup>2</sup>/日 (1歳未満または10 kg未満では1 mg/kg/日)
- ② AraC: day-9からday-6まで 2 g/m<sup>2</sup>/日 (1歳未満または10 kg未満では67mg/kg/日)
- ③ Mel: day-5からday-3まで 60 mg/m<sup>2</sup>/day (1歳未満または10 kg未満では2 mg/kg/日)
- ④ TBI: day-1に3Gy 1または2分割 (精巣遮蔽は許容される)

## 6. 予定登録数と研究期間

予定登録数：骨髄破壊的前処置群 33 例、強度減弱前処置(FLAMEL)群 33 例

総括報告書の概要を「臨床研究等提出・公開システム (jRCT)」に記録することにより公表した日を本臨床研究が終了した日とする。

総研究予定期間：2017 年 7 月 1 日～2027 年 6 月 30 日 (10 年間)

登録期間：2017 年 7 月 1 日～2023 年 12 月 31 日 (6.5 年間)

追跡期間：2024 年 1 月 1 日～2026 年 12 月 31 日 (3 年間)

## 7. 問い合わせ先

研究事務局：石田宏之

京都市立病院小児科

〒604-8845 京都市中京区壬生東高田町 1-2

TEL: 075-311-5311 FAX: 075-321-6025

研究協同事務局：梅田雄嗣

京都大学大学院医学研究科発達小児科学

〒606-8507 京都府京都市左京区聖護院川原町 54

TEL: 075-751-3290 FAX: 075-752-2361