

臨床試験概要

1. 研究代表者(氏名、施設)

広島大学自然科学研究支援開発センター 檜山 英三
日本小児肝臓スタディグループ

2. 概要と目的

小児の原発性肝腫瘍（肝芽腫（HB）及び肝細胞がん（HCC））は小児がんの1%を占める。HBの年間発生率は小児100万人あたり0.8であり、HCCの発生率はこれより低く、世界中で500,000人超が罹患するにすぎない。

現在、HBの5年生存率は、疾患状況において約50~100%で推移しているが、その治療のキードラッグであるシスプラチン誘発性の聴覚毒性及び神経毒性、ドキソルビシン誘発性の心筋症及び二次性白血病を含む重大な毒性のリスクを有している。

小児肝がんの国際共同臨床試験（PHITT）は、予後良好な患者に対して、治療を軽減することによって良好な治療成績を損なうことなく短期及び長期副作用のリスクが低減されるかどうかを、また、予後不良な患者に対して、新規薬剤を導入して治療を強化することで転帰が改善するかどうかを調査する目的とする。

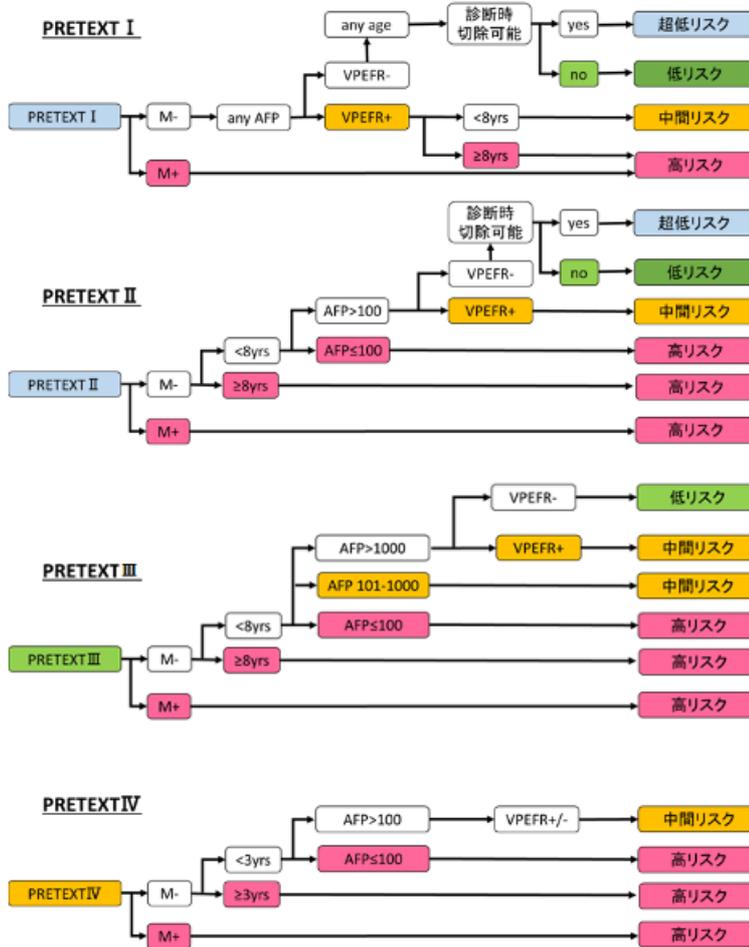
非常に稀な疾患であるため、主に4つの小児がん研究グループ、すなわち、欧州の国際小児がん学会肝がんグループ（SIOPEL）、北米における小児がん研究グループ（COG）、日本小児肝臓研究グループ（JPLT）及びドイツ小児がん・血液学会（GPOH）で共同することによってHB及びHCCと診断された小児、思春期及び若年成人患者を対象に上記目的を達成するために共通のリスク分類を用いて患者を層別化し、それぞれの治療群においてランダム比較試験または新規薬剤の有効性の検証を行う。

3. 対象

30歳以下でHBの臨床診断およびHB又はHCCの組織学的確定診断のあるもの

下図の国際小児肝腫瘍コンソーシアム（CHIC）分類に従い、各治療群へ割り付ける

図 1 CHIC Risk グループ

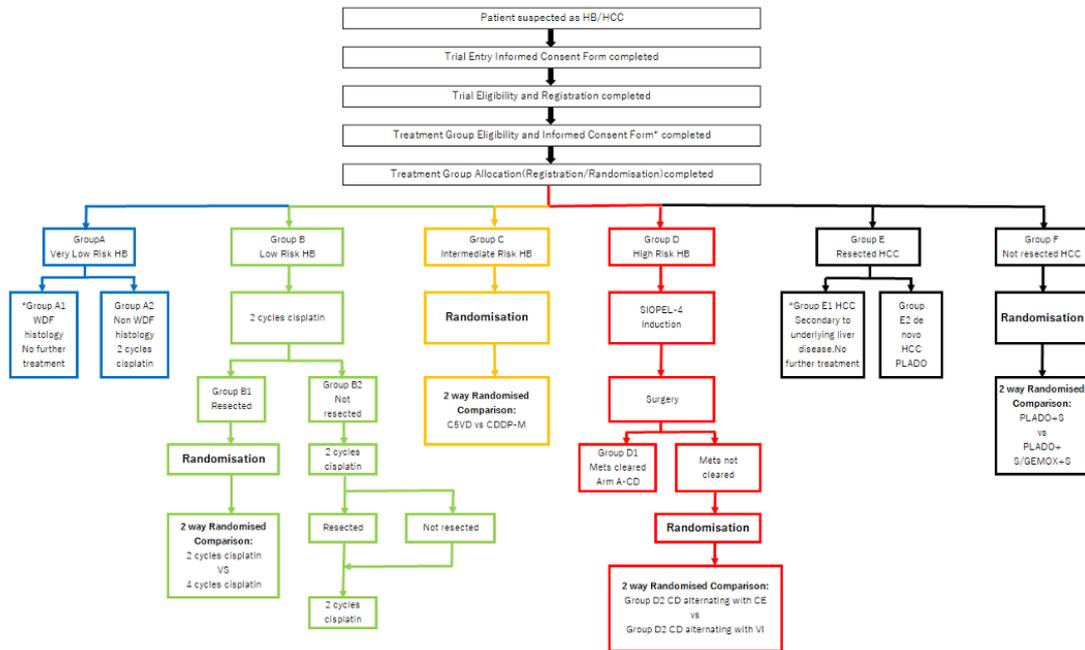


M: 遠隔転移

VPEFR: PRETEXT アノテーション因子 (V (3つの肝静脈及び/又は肝後面 IVC の「浸潤」)、P (門脈本幹又は両方の門静脈の「浸潤」)、E (隣接する肝外拡張)、F (多葉性)、R (診断前での腫瘍破綻))

4. 治療(シェーマ可)

試験概略図



5. 予定登録数と研究期間

予定登録期間: 4 年

追跡期間: 最低3年

総研究予定期間: 10 年

予定登録症例数 :

症例数

	JCCG (日本および東アジア) で予測される症例数	3つの共同研究グループ全体で最終解析に予定されている症例数
A 群 – 超低リスク HB	48	200
B 群 – 低リスク HB	80	400
C 群 – 中間リスク HB	42	210
D 群 – 高リスク HB	42	210
E 群 – 切除 HCC	11	50
F 群 – 非切除/転移を伴う HCC	40	150