過去の多施設共同研究において両側性 Wilms 腫瘍（WT）の予後は良好であったが、腎温存に関しては満足のゆく結果は得られなかった。そこで腎温存を主眼とした新プロトコールを作成し、2014 年より臨床試験 RTBL14 を開始した。今回臨床試験を終了したので結果を報告する。

方法：研究の主目的は一年後の両側腎温存率とした。両側性 WT 全例に 3 剤を用いた術前化学療法を行い、腫瘍の縮小を図った後に腎温存を目指した手術を行う方針で治療を行なった。

研究参加施設が 23 施設と少なく、登録症例数も 3 例と予定数を大きく下回ったため、これ以上継続しても予定症例数を集めることは困難と判断し、予定研究期間の 5 年で研究を終了した。登録された 3 例中 1 例は腫瘍内出血を起こしたためプロトコール逸脱症例となった。残りの 2 例はプロトコールを完遂したが、最終的に両側腎が温存できたのは一例のみであった。3 例とも無病生存中で、予後は良好であった。

医師へのアンケート調査では、研究に不参加の理由として両側性 WT の症例が少ないためせっかく倫理審査を受審しても、症例を登録しないまま終わってしまう、と答えが最も多かった。小児腫瘍治療の集約化が進んでいない本邦において、このような超希少疾患で必要症例数を集めることは困難であり、治療法改善のためには、国際共同試験を積極的に進めることが不可欠であると考えられた。