臨床試験概要　JPLSG ALL-Ph13

1．研究代表医師(氏名、施設)

佐藤 篤　宮城県立こども病院 血液腫瘍科

2. 研究事務局

嶋田 博之　慶應義塾大学医学部 小児科

3. 目的

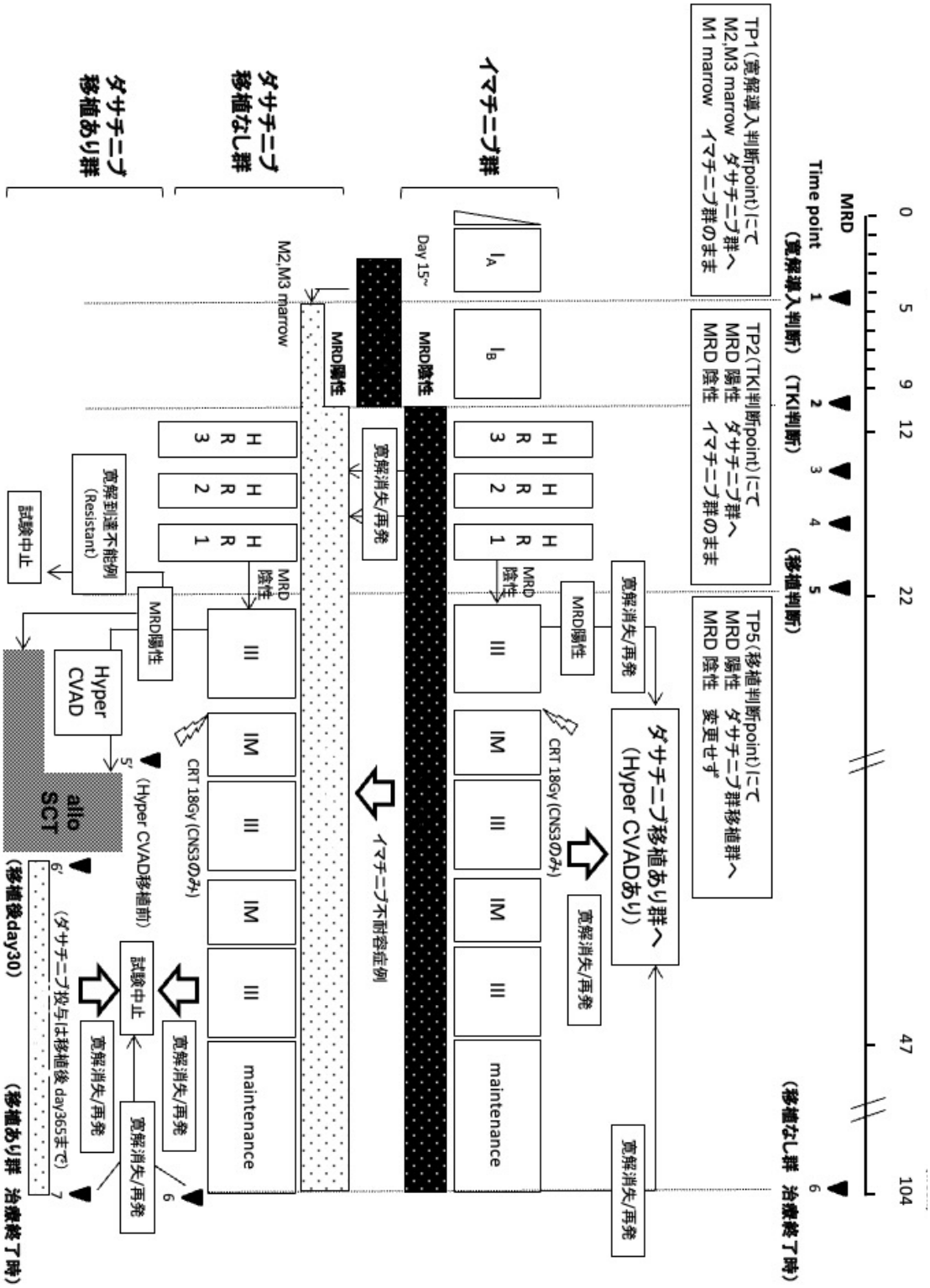
急性リンパ性白血病（ALL）の約 4-5%にみられるフィラデルフィア染色体陽性 ALL（Ph+ALL）は最も予後不良な白血病の一つです。フィラデルフィア染色体は、細胞の核内にある遺伝情報の担い手としての染色体の異常で、22 番と 9 番の間での転座（染色体の一部が切断されて、他の部分に付着するなどして位置を変えてしまうこと）によって、ABL1 と BCR という遺伝子が融合し、異常なタンパク質を生じ、白血病の原因となります。Ph+ALL の患者さんは、チロシンキナーゼ阻害剤という新しいお薬が併用されるようになるまでは、長期生存は 4 割程度でした。近年イマチニブという BCR-ABL1 融合遺伝子産物を特異的に阻害するチロシンキナーゼ阻害活性を持った、経口の分子標的薬剤が開発され、このお薬の登場により Ph+ALL に対する治療成績は向上してきました。またダサチニブという薬も開発され、小児治療抵抗性 Ph+ALL 患者さんにおいて、治療効果向上への貢献を期待されています。さらに、治療開始後に体内にわずかに白血病細胞（微小残存病変：MRD）が残ることが知られており、これを経時的にモニタリングすることで、一人ひとりの患者さんにとって、より適切な治療方針を決定する事が可能になってきました。

この臨床試験ではイマチニブを併用した化学療法を行い、難治の場合には、イマチニブからダサチニブへ変更した化学療法を行い、その有効性と安全性を検討します。さらに MRD を経時的に測定する事で、予後良好が見込まれる患者さんに対しては合併症が多いとされる同種造血幹細胞移植を行わず、イマチニブまたはダサチニブ併用化学療法を続け、その有効性と安全性を確認します。また、最新の研究の進歩を踏まえ、分子レベルの予後因子を探索します。さらに QOL（患者さんの生活の質）を評価することにより、治療や薬剤が患者さんの生活とどのように関係しているのかを調べることも目的としています。

4. 対象

1 歳以上 19 歳以下の初発 Ph+ALL の患者さん

5. 治療



MRD：微小残存病変、TKI：チロシンキナーゼ阻害薬、CRT：頭蓋照射、allo SCT：同種造血幹細胞移植

6. 予定登録数と研究期間

目標症例数 44 例

予定登録期間: 4 年 2 か月間（2013 年 10 月 1 日～2017 年 11 月 30 日）

予定追跡期間: 登録終了後 4 年間（2017 年 12 月 1 日～2021 年 11 月 30 日）

※QOL 研究は登録終了後 3 年間（2017 年 12 月 1 日～2020 年 11 月 30 日）

総研究予定期間: 8 年 2 か月間(2013 年 10 月 1 日～2021 年 11 月 30 日)

7. 問い合わせ先

研究代表医師：佐藤 篤　宮城県立こども病院 血液腫瘍科