

研究名：移植後シクロホスファミドを用いた小児非腫瘍性疾患に対する HLA 半合致移植に関する後方視的観察研究

1. 研究の目的

造血細胞移植にあたっては、ヒト白血球抗原が適合したドナーから移植を受けるのが望ましいですが、そのようなドナーが見つからない場合に代替ドナーとして、ヒト白血球抗原が適合しない血縁のドナーから移植（HLA 半合致移植）が行われてきました。また、HLA 半合致移植では、造血細胞移植に伴う合併症である移植片対宿主病を予防するためにシクロホスファミドという薬剤を用いる（PTCY）ことがあります。この移植法は成人領域では標準的な移植法として急激に普及しています。

海外からは、PTCY を用いた HLA 半合致移植は原発性免疫異常症や再生不良性貧血などの非悪性腫瘍の小児患者さんにおいても一定の効果が報告されていますが、本邦ではその実態が不明です。

そのため、本研究では非腫瘍性疾患に対して PTCY を用いた HLA 半合致移植を受けた小児患者さんの実態を把握し、そのデータに基づいて臨床試験を立案し、PTCY を用いた HLA 半合致移植の移植成績の改善に役立てることを目的としています。

2. 研究の方法

- ① 研究期間：倫理審査委員会承認後～2025 年 12 月 31 日迄
- ② 対象となる患者さん：TRUMP データの情報内で、1994 年から 2021 年の間で先天性免疫異常症に対して初回の同種造血幹細胞移植を受けた患者さんを対象とします。ただし、重症複合型免疫不全症の患者さんは、その疾患の特性上、前処置を行わなくても生着し得るため本研究の対象からは除きます。
- ③ 具体的な手順・方法：日本造血・免疫細胞療法学会および日本造血細胞移植データセンターから提供されたデータセット（TRUMP データ）を用いて、以下の統計学的解析を行います。TRUMP からは収集できない項目については、日本小児血液がん学会および日本免疫不全・自己炎症学会からそれぞれ利用許可を得たうえで調査を行います。
対象となる患者さんを抗胸腺細胞グロブリンまたは抗リンパ球グロブリンの使用群と非使用群に分けて、初回の移植日を起算日とした全生存率、無イベント生存率、非再発死亡率、再発率（一次生着不全および二次生着不全を再発と定義します）、急性移植片対宿主病発生率、慢性移植片対宿主病発生率、再移植率、移植後感染症の発症率などを解析し、比較検討します。

3. 研究に用いる情報の種類

メインの対象となる患者さんの背景情報：疾患名、性別、年齢、移植前に合併している感染症/移植時の活動性感染症、移植源、前処置使用薬剤および放射線照射量、移植片対宿主病予防、移植日、移植細胞数、ヒト白血球抗原の一致度、血液型の適合度、移植日、生着日、キメリズム、ドナーリンパ球輸注、再移植、急性および慢性移植片対宿主病、移植片対宿主病以外の移植関連合併症など

※

氏名など本人を特定できる一切の個人情報には調査対象ではありませんが、移植日や生年月日等を用いて、日本小児血液がん学会および日本免疫不全・自己炎症学会からいただいたデータと TRUMP データの紐づけをします。データの紐づけをした後、移植日や生年月日等のデータは破棄します。このため個人情報は保守されます。

4. 情報の公表

研究内容は学会発表や学術論文の形で公表する予定です。

5. 研究実施機関

国立成育医療研究センター

6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としませんので、移植を受けた施設にその旨をお伝えください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

○照会先：

防衛医科大学校 小児科学講座 教授 今井耕輔

住所：〒359-8513 埼玉県所沢市並木 3-2

電話：04-2995-1621

○研究への利用を拒否する場合の連絡先

移植を受けた医療機関に直接ご連絡下さい。

○研究責任者：

国立成育医療研究センター 小児がんセンター血液内科 井口晶裕