

研究名：移植後シクロフォ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

血縁または非血縁 HLA 適合ドナーが見つからない場合の造血細胞移植の代替ドナーとして、HLA 2 抗原以上不一致の血縁ドナーからの HLA 半合致移植が行われてきました。移植後シクロホスファミド（PTCY）を用いた HLA 半合致移植は、成人領域の造血細胞移植分野において標準的な移植法の 1 つとして急速に普及しています。

非腫瘍性疾患に対する PTCY を用いた移植成績は海外では原発性免疫不全症や再生不良性貧血（AA）に対するものが主に報告されており、白血病などの悪性疾患と比べ生着不全リスクが高い傾向にあるものの、一定の効果があることが示されています。

しかし、本邦における小児を対象とした PTCY を用いた HLA 半合致移植の報告は、国立成育医療研究センターからの単施設の報告に限られており、世界的にも小児例を含んだ PTCY ハプロ移植の報告が増えてくる中、本邦の小児血液非悪性腫瘍患者に対して、実際どのような形で PTCY を用いた HLA 半合致移植が行われているか、その実態は不明です。

本研究では本邦における非腫瘍性疾患に対する PTCY を用いた HLA 半合致移植の実情を明らかにし、そのデータに基づき今後の PTCY を用いた前方視臨床試験の基礎データとなり、今後の非腫瘍疾患に対する PTCY を用いた移植成績の改善に寄与することが期待されます。

2．研究の方法

研究期間：倫理審査委員会承認後～2025 年 12 月 31 日迄

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 IEI 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。

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 ATG/ALG 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 GVHD 発生率、慢性 GVHD 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、GVHD 予防、移植日、移植細胞数、HLA の一致度、血液型の適合度、移植日、生着日、キメリズム、DLI、再移植、急性および慢性 GVHD、GVHD 以外の移植関連合併症など

患者さんの氏名など、本人を特定出来る一切の個人情報には調査対象ではなく、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．お問合せ先

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：

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

住所：〒157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1

電話：03-3416-0181

○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