

令和 6 年度厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）
分担研究報告書
難治性血管腫・脈管奇形・血管奇形・リンパ管奇形（リンパ管腫）・リンパ管腫症および
関連疾患についての調査研究

研究分担：小児慢性特定疾病と指定難病の整合性 トランジション

研究分担者 康勝好
埼玉県立小児医療センター 血液腫瘍科科長

研究要旨

小児慢性特定疾病と指定難病の整合性整備、トランジション体制の整備に向けて、前秋田班で診療ガイドライン改訂作業を完遂し、2022 年度版を完成させた。今年度は完成したガイドラインを普及すべく、小児科学会や、小児血液・がん学会のシンポジウム等で、広く学会員を対象とした啓発活動を行った。また関係各学会の英文誌にガイドラインの英語版を掲載できるように努め、具体的には **Pediatrics International** 誌と交渉して同時掲載の了解を得た。英文誌用の原稿はほぼ完成しており、今後は投稿作業に入る予定である。ガイドラインの普及において大きな成果を得た。

A. 研究目的

指定難病、小児慢性特定疾患の永続的把握、診断標準化努力、オミクス医療への展開を進め、政策に寄与する研究を行う。

は患者・家族から文書による同意を取得し、十分な個人情報保護対策をとる。

B. 研究方法

小児慢性特定疾病と指定難病の整合性整備、トランジション体制の整備に向けて、完成した 2022 年度版のガイドラインの普及に努める。

（倫理面への配慮）

ガイドライン作成は、MINDSに従って実施する。疾患レジストリ登録において

C. 研究結果

今年度は完成したガイドラインを普及すべく、小児科学会や、小児血液・がん学会等で、広く学会員を対象とした啓発活動を行った。この 2, 3 年で学会員の本領域についての関心、知識は確実に向上していると言える。また関係各学会の英文誌にガイドラインの英語版を掲載できるように努め、具体的には **Pediatrics International** 誌と交渉して同時掲載の了解を得た。ガイドラインの普及において大きな成果を得た。英文誌用の原稿はほぼ完成しており、今後は投稿作業に入る予定である。

D. 考察

小児慢性特定疾病と指定難病の整合性整備、トランジション体制の整備のためには、診療の質を担保するガイドラインの普及が必須である。今年度は完成したガイドライン内容を普及する活動を行い、大きな成果となった。

E. 結論

ガイドライン改訂を完遂し、普及活動を行った。

E. 健康危険情報

なし

F. 研究発表

1. 論文発表

1. Koh K, Kosaka Y, Okamoto Y, Maeda N, Ogawa A, Kobayashi R, Hasegawa D, Koga N, Tessier A, Shvenke Y, Zhu J, Benettaib B, Horibe K, Ogawa C. Phase 2 multicenter study of pegaspargase in Japanese patients with previously untreated acute lymphoblastic leukemia. *Int J Hematol*. 2025 Mar 31. doi: 10.1007/s12185-025-03976-4. Online ahead of print.
2. Sekimizu M, Watanabe T, Fukushima H, Koh K, Yuza Y, Takeshima Y, Watanabe H, Anan T, Mori T, Mori T, Kobayashi R,

Nakazawa A, Ohshima K, Saito AM, Takimoto T, Tsurusawa M, Horibe K, Sunami S. Localized Lymphoblastic Lymphoma in Children and Adolescents: Results of the LLB-NHL03 Trial- A Report From the Japan Children's Cancer Group. *Pediatr Blood Cancer*. 2025 May;72(5):e31590. doi: 10.1002/pbc.31590. Epub 2025 Feb 13.

3. Sakai K, Hamamura A, Yoshimura Y, Abe M, Ogawa Y, Tanaka K, Hattori N, Tokugawa T, Kanai R, Ikejiri F, Takeyama M, Taoka T, Fujita N, Kanaya M, Koh K, Shiragami H, Azumi H, Saito K, Matsumoto M. Therapeutic switch from plasma to recombinant ADAMTS13 for patients with congenital TTP from Japanese real-world data. *Blood*. 2025 Mar 16:blood.2024027516. doi: 10.1182/blood.2024027516. Online ahead of print.
4. Yoshikawa T, Ishida H, Watanabe A, Yuza Y, Shima H, Ito M, Sakurai Y, Keino D, Ichimura T, Kato K, Osugi Y, Sunami S, Shinoda K, Imamura T, Koh K, Okimoto Y, Tono C, Shimada H, Tanizawa A. Favorable outcomes of de novo advanced phases of pediatric

- chronic myeloid leukemia in the tyrosine kinase inhibitor era. *Int J Hematol*. 2025 Mar 15. doi: 10.1007/s12185-025-03953-x. Online ahead of print.
5. Kato I, Tomizawa D, Kato M, Hirabayashi S, Manabe A, Irie M, Sasahara Y, Arakawa Y, Koh K, Sakaguchi H, Sugiyama M, Ogawa C, Kamiya T, Saito S, Nakazawa Y, Nishio N, Takahashi Y, Iwai N, Adachi S, Takita J, Miyamura T, Yokoyama S, Oba U, Ueda T, Koga Y, Hiramatsu H. Real-world Outcomes of Commercial Tisagenlecleucel for Children, Adolescents, and Young Adults With Acute Lymphoblastic Leukemia in Japan. *Transplant Cell Ther*. 2025 Feb;31(2):86-96.
 6. Kato M, Okamoto Y, Imamura T, Kada A, Saito AM, Iijima-Yamashita Y, Deguchi T, Ohki K, Fukushima T, Anami K, Sanada M, Taki T, Hashii Y, Inukai T, Kiyokawa N, Kosaka Y, Yoshida N, Yuza Y, Yanagimachi M, Watanabe K, Sato A, Imai C, Taga T, Adachi S, Horibe K, Manabe A, Koh K. JCCG ALL-B12: Evaluation of Intensified Therapies With Vincristine/Dexamethasone Pulses and Asparaginase and Augmented High-Dose Methotrexate for Pediatric B-ALL. *J Clin Oncol*. 2025 Feb 10;43(5):567-577.
 7. Fukuoka K, Zhao J, Oshima K, Honda M, Mitani Y, Mori M, Arakawa Y, Ohashi K, Kawashima H, Tanami Y, Momose S, Tamaru JI, Nakazawa A, Koh K. Isolated testicular second-relapsed T-lymphoblastic lymphoma after allogeneic stem cell transplantation: Therapeutic implication from sequential molecular genetic analysis. *Br J Haematol*. 2024 Dec;205(6):2519-2522.
 8. Locatelli F, Antmen B, Kang HJ, Koh K, Takahashi Y, Kupesiz A, Dias Matos MGA, Chopra Y, Bhat S, Im HJ, Güngör T, Lu MY, Stefanelli T, Rosko C, St Pierre A, Burock K, Smith Y, Sinclair K, Diaz-de-Heredia C. Ruxolitinib in treatment-naïve or corticosteroid-refractory paediatric patients with chronic graft-versus-host disease (REACH5): interim analysis of a single-arm, multicentre, phase 2 study. *Lancet Haematol*. 2024 Aug;11(8):e580-e592.
 9. Locatelli F, Kang HJ, Bruno B, Gandemer V, Rialland-Battisti F, Faraci M, Takahashi Y, Koh K, Bittencourt H, Cleary G, Rosko

- C, Li X, St Pierre A, Prahallad AC, Diaz-de-Heredia C. Ruxolitinib for pediatric patients with treatment-naïve and steroid-refractory acute graft-versus-host disease (REACH4). *Blood*. 2024 Nov 14;144(20):2095-2106.
10. Hashii Y, Kawaguchi K, Kurakami H, Umeda K, Hasegawa D, Taki T, Hyakuna N, Ishida H, Takahashi Y, Nagasawa M, Yabe H, Yano M, Nakazawa Y, Fujisaki H, Matsumoto K, Yanagimachi M, Yoshida N, Kakuda H, Satou A, Tabuchi K, Tomizawa D, Taga T, Adachi S, Koh K, Kato K. A Retrospective Study of Pediatric Patients With Low- or Intermediate-Risk Acute Myeloid Leukemia Who Underwent Allogeneic Hematopoietic Cell Transplantation for the AML-05 Study Conducted by the Japanese Pediatric Leukemia/Lymphoma Study Group. *Transplant Cell Ther*. 2024 Nov;30(11):1102.e1-1102.e12.
 11. Yamanaka J, Ogawa C, Arakawa A, Deguchi T, Hori T, Kiyokawa N, Ueki H, Nishi M, Mochizuki S, Nishikawa T, Kumamoto T, Nishiuchi R, Kikuta A, Yamamoto S, Koh K, Hasegawa D, Ogawa A, Watanabe K, Sato A, Saito AM, Watanabe T, Manabe A, Horibe K, Goto H, Toyoda H. Outcomes in children with first-relapsed acute lymphoblastic leukemia in Japan: Results from JCCG Study JPLSG-ALL-R08. *Pediatr Blood Cancer*. 2024 Dec;71(12):e31319.
 12. Sakaguchi H, Taga T, Ishida H, Hama A, Okamoto Y, Sano H, Sato M, Koga Y, Koh K, Iwasaki F, Yoshida N, Cho Y, Okada K, Watanabe K, Watanabe A, Hasegawa D, Noguchi M, Hashii Y, Matsumoto K, Tabuchi K; Pediatric Acute Myeloid Leukemia Working Group of Japanese Society for Transplantation and Cellular Therapy. Salvage hematopoietic cell transplantation for children with acute myeloid leukemia relapsed after first transplantation: a Japanese national registry study. *Bone Marrow Transplant*. 2024 Nov;59(11):1621-1624.
 13. Ishida H, Kawahara Y, Tomizawa D, Okamoto Y, Hama A, Cho Y, Koh K, Koga Y, Yoshida N, Sato M, Terui K, Miyagawa N, Watanabe A, Takita J, Kobayashi R, Yamamoto M, Watanabe K, Okada K, Kato K, Matsumoto K, Hino M, Tabuchi K, Sakaguchi H.

- A higher CD34 + cell dose correlates with better event-free survival after KIR-ligand mismatched cord blood transplantation for childhood acute myeloid leukemia. *J Hematol Oncol.* 2024 Apr 29;17(1):24.
14. Ishida H, Imamura T, Kobayashi R, Hashii Y, Deguchi T, Miyamura T, Oda M, Yamamoto M, Okada K, Sano H, Koh K, Yuza Y, Watanabe K, Nishimura N, Takimoto T, Moriya-Saito A, Sekimizu M, Suenobu S, Sunami S, Horibe K. Differential impact of asparaginase discontinuation on outcomes of children with T-cell acute lymphoblastic leukemia and T-cell lymphoblastic lymphoma. *Cancer Med.* 2024 Jun;13(12):e7246.
 15. Horiguchi A, Arakawa Y, Mitani Y, Isobe K, Mori M, Fukuoka K, Oshima K, Koh K. Regular prophylaxis with activated prothrombin complex concentrates in pediatric hemophilia. *Pediatr Int.* 2024 Jan-Dec;66(1):e15774.
 16. Matsui M, Makimoto A, Chin M, Koh K, Tomotsune M, Kaneko T, Morikawa Y, Hamada R, Yuza Y. Magnesium supplementation therapy to prevent cisplatin-induced acute nephrotoxicity in pediatric cancer: a randomized phase-2 trial. *Int J Clin Oncol.* 2024 May;29(5):629-637.
 17. Amano H, Uchida H, Harada K, Narita A, Fumino S, Yamada Y, Kumano S, Abe M, Ishigaki T, Sakairi M, Shirota C, Tainaka T, Sumida W, Yokota K, Makita S, Karakawa S, Mitani Y, Matsumoto S, Tomioka Y, Muramatsu H, Nishio N, Osawa T, Taguri M, Koh K, Tajiri T, Kato M, Matsumoto K, Takahashi Y, Hinoki A. Scoring system for diagnosis and pretreatment risk assessment of neuroblastoma using urinary biomarker combinations. *Cancer Sci.* 2024 May;115(5):1634-1645.
 18. Sato T, Yoshida K, Toki T, Kanezaki R, Terui K, Saiki R, Ojima M, Ochi Y, Mizuno S, Yoshihara M, Uechi T, Kenmochi N, Tanaka S, Matsubayashi J, Kisai K, Kudo K, Yuzawa K, Takahashi Y, Tanaka T, Yamamoto Y, Kobayashi A, Kamio T, Sasaki S, Shiraishi Y, Chiba K, Tanaka H, Muramatsu H, Hama A, Hasegawa D, Sato A, Koh K, Karakawa S, Kobayashi M, Hara J, Taneyama Y, Imai C, Hasegawa D, Fujita N, Yoshitomi M, Iwamoto S, Yamato G, Saida S, Kiyokawa N, Deguchi T, Ito M, Matsuo H, Adachi S Prof,

- Hayashi Y, Taga T, Moriya Saito A, Horibe K, Watanabe K, Tomizawa D, Miyano S, Takahashi S, Ogawa S, Ito E. Landscape of driver mutations and their clinical effects on Down syndrome-related myeloid neoplasms. Blood. 2024 Jun 20;143(25):2627-2643.
19. 細谷 通靖, 新津 健裕, 林 拓也, 植田 育也, 康 勝好 気道緊急患者の施設間搬送 2 症例の経験 埼玉小児医療センター医学誌 (0911-4866)41 巻 Page22-25(2024.10)
20. 本田 護, 荒川 ゆうき, 水島 喜隆, 入倉 朋也, 石川 貴大, 渡壁 麻依, 金子 綾太, 三谷 友一, 窪田 博仁, 森 麻希子, 福岡 講平, 大嶋 宏一, 福地 麻貴子, 小久保 知寿子, 中村 有里, 一色 恭平, 康 勝好 高リスク神経芽腫に対する抗 GD2 抗体の使用経験 日本小児血液・がん学会雑誌(2187-011X)61 巻 2 号 Page184-190(2024.07)
21. 高崎 晃, 桃井 貴裕, 入江 紗瑛子, 秦 美能理, 三山 智史, 高橋 千恵, 小島 あきら, 越野 由紀, 古谷 憲孝, 三谷 友一, 康 勝好, 西本 創 軽度の血球減少を伴う耳下腺腫脹から急性リンパ性白血病の診断にいたった小児例 小児内

- 科(0385-6305)56 巻 8 号 Page1293-1296(2024.08)
22. 小川 千登世, 石原 卓, 今井 千速, 岡本 康裕, 加藤 元博, 康勝好, 後藤 裕明, 堺田 恵美子, 佐藤 篤, 下之段 秀美, 関水 匡大, 豊田 秀実, 早川 文彦, 矢野 未央, 山崎 悦子, 真部 淳, Consensus expert recommendations 本邦の実臨床での急性リンパ性白血病/リンパ芽球性リンパ腫(ALL/LBL)治療におけるアスパラギナーゼ製剤の最適使用の検討, 血液内科 2024 ; 88(4) : 445-454

2. 著書

G. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし