

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）

「特発性造血障害に関する調査研究」

分担研究報告書

難病プラットフォーム 再生不良性貧血の症例登録・追跡調査研究

研究分担者 三谷 絹子 獨協医科大学 血液・腫瘍内科・教授

## 研究要旨

本研究は、トロンボポエチン受容体作動薬の導入以後の本邦における再生不良性貧血症例の臨床情報を集積し、治療実態および予後を把握することで、将来的に再生不良性貧血の新しい治療法の開発や確立に貢献することを目的として本年度より着手された。ワーキンググループを編成し、難病プラットフォーム事務局に相談をして、将来の二次利用が可能な形式で、研究計画書、同意説明文及び同意書を作成した。また、患者情報登録のための EDC 画面を作成した。

### A. 研究目的

再生不良性貧血に対する治療の進歩として、2017年8月にエルトロンボパグが抗胸腺細胞免疫グロブリンで未治療の場合および既存治療で効果不十分な場合に承認され、2019年6月にはロミプロスチムも既存治療で効果不十分な場合に承認されており、本邦では2種類のトロンボポエチン受容体作動薬が投与可能となっている。トロンボポエチン受容体作動薬の導入以後の本邦における再生不良性貧血症例の臨床情報を集積し、治療実態および予後を把握することを目的に、「難病プラットフォーム 再生不良性貧血の症例登録・追跡調査研究」を開始することとした。

山崎宏人

京都大学 血液・腫瘍内科

諫田淳也

北里大学 血液内科学

教授 鈴木隆浩

獨協医科大学 血液・腫瘍内科

中村文美

また、症例の電子登録のための EDC 画面の作成を EP クルーズに依頼した。

令和3年12月17日に本研究班の分担施設と連携施設 合計66施設（小児8施設を含む）に、各施設での2017年9月以降の再生不良性貧血の経験数と本研究への参加希望の有無を尋ねるアンケート調査のメールを配信した。

### B. 研究方法

2017年9月1日以降に再生不良性貧血と診断された16歳以上の患者の臨床情報を収集する多施設共同レジストリ研究であり、前方視的登録と後方視的登録を同時に行う。

研究計画書は以下のプロトコル作成委員会で行った。

獨協医科大学 血液・腫瘍内科

教授 三谷絹子（委員長）

金沢大学 輸血部

（倫理面への配慮）

本研究では「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」を遵守し、患者の人権擁護と個人情報保護の観点から、資料の収集と取り扱いには十分留意する。研究計画書、同意説明文・同意書に関しては、来年度早々に研究代表施設及び参加各施設での倫理審査を受ける予定である。研究参加に際しては、十分な説明の上、患者の自由意思による同意（インフォームド・コンセント）を取得

する。

### C. 研究結果

令和3年12月27日に研究計画書、同意説明文・同意書の第1版が完成した。主要評価項目は全生存期間（1年生存率、2年生存率、5年生存率）とする。副次評価項目は、年齢別・性別の各重症度の割合、初回治療の内訳、年齢別・性別、治療別および重症度別の初回治療の奏効率（Camittaの基準およびTownsendの論文での基準）、治療別の奏効例における無再発生存期間および再発率、2次治療、3次治療の治療内容および奏効率、治療合併症（CMV・EBV）、難治例の頻度、発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）への移行率および移行までの期間、骨髄異形成症候群（MDS）および急性骨髄性白血病（AML）への進展率および進展までの期間、治療別の治療後の染色体異常の種類および頻度、生存に関する予後因子（全生存期間および無再発生存期間）、治療別の治療効果の予測因子である。

EPクルーズに依頼したEDC画面は3月末日に完成した。

一次調査の結果は、回答施設数 32 施設（小児 1 施設を含む）、うち参加希望施設数 30 施設、参加施設のAA症例数 329 例であった。

### D. 考察

研究計画書、同意説明文・同意書の作成、及びEDC画面の作成が完了し、来年度早々に研究代表施設で倫理審査を受ける予定である。研究開始に向けて準備がほぼ整ったと言える。また、一次調査の結果、本研究に参加予定の施設が30施設、後方視的登録の対象が329例いることが明らかになった。十分な解析が行える症例数であると考えられる。また、前方視的登録の継続により、予後解析が可能な症例が得られることが期待される。本研究の成果は、将来的に再生不良性貧血の新しい治療法の開発や確立に貢献すると考えられる。

### E. 結論

「難病プラットフォーム 再生不良性貧血の症例登録・追跡調査研究」の研究計画書、同意説明文・同意書の作成、及びEDC画面の作成が完了し、来年度に向けて研究開始の準備が整った。

### F. 健康危険情報

特になし

### G. 研究発表

なし

### H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

1. 特許取得  
該当なし
2. 実用新案登録  
該当なし

### 3. その他

研究班ホームページ：

<http://zoketsushogaihan.umin.jp>