

## AL アミロイドーシスに対する造血幹細胞移植の後方視的検討二次調査

### 1. 臨床研究について

九州大学病院では、最適な治療を患者さんに提供するために、病気の特徴を研究し、診断法、治療法の改善に努めています。このような診断や治療の改善の試みを一般に「臨床研究」といいます。その一つとして、九州大学病院 血液・腫瘍・心血管内科では、現在「単クローン免疫グロブリン沈着症(アミロイドーシス)」への治療として自家造血幹細胞移植を行った患者さんを対象として、造血幹細胞移植の成績と予後因子に関する「臨床研究」を行っています。

今回の研究の実施にあたっては、九州大学医系地区部局臨床研究倫理審査委員会の審査を経て、研究機関の長より許可を受けています。この研究が許可されている期間は、2023 年 2 月 28 日までです。

### 2. 研究の目的や意義について

日本造血細胞移植データセンター (JDCHCT) / 日本造血細胞移植学会 (JSHCT) の保有する移植登録一元管理プログラムデータ (TRUMP データ) には全国で行われた造血幹細胞移植の多数のデータが登録されています。造血幹細胞移植の成績向上を目的として、これらのデータに対し、さまざまな解析が行われています。

AL アミロイドーシスは、100 万人に 3~5 人程度といわれている稀な疾患です。その予後は不良で、未治療例の生存期間は 10~14 か月とされています。

AL アミロイドーシスの治療は臓器障害が進行してからでは困難なため、可能な限り早期に診断し治療介入を行う必要性があります。移植治療が可能な場合、自家造血幹細胞移植併用大量メルファラン療法は、高い治療効果が得られるとされています。以前は治療関連死亡率が 12~13%と高かったのですが、メルファランの量を調整することにより 2006 年以降は治療関連死亡率を改善できています。

AL アミロイドーシスは移植治療が適する患者さん、適さない患者さんがいますが、移植適応患者が少なく、移植成績に関するデータは乏しいのが現状です。前処置のメルファランの投与量による差、寛解導入療法の必要性、移植成績に影響を与える因子などについてはまだ不明の点が多いのです。

本研究は、稀な疾患である AL アミロイドーシスについて、JDCHCT 主導で全国規模での二次調査を行い、造血幹細胞移植の有用性を検証することを目的としています。治療効果と予後因子 (年齢、性別、前処置、移植細胞数、障害臓器数、心バイオマーカーや血清遊離軽鎖など) の解析を行うことで、治療介入に有用な情報を得られれば、将来の移植成績の向上が期待できます。

### 3. 研究の対象者について

九州大学病院 血液・腫瘍・心血管内科において、「単クローン免疫グロブリン沈着症(アミロイドーシス)」への治療として、1999 年 12 月 1 日から 2015 年 12 月 31 日までに自家造血幹細胞移植を受けた症例 4 例を対象とします。

研究の対象者となることを希望されない方又は研究対象者のご家族等の代理人の方は、下記までご連絡ください。

担当者：医学研究院病態修復内科学分野・准教授・宮本敏浩

連絡先：〔TEL〕 092-642-5230 (内線 2492)

〔FAX〕 092-642-5315

メールアドレス：toshmiya@intmed1.med.kyushu-u.ac.jp

### 4. 研究の方法について

この研究では、先行研究(※)として集積された TRUMP データより、患者背景・移植情報に関する情報、生着に関する情報、合併症に関する情報、再発・再燃に関する情報、生存に関する情報を使用します。加えて、不足する情報の二次調査として下記の情報を電子カルテより取得します。これらの情報を用いて、単クローン免疫グロブリン沈着症(アミロイドーシス)症例の移植後全生存期間および血液学的効果、臨床(臓器)効果、移植関連死亡率、また予後因子として、年齢、性別、前処置、移植細胞数、障害臓器数、心バイオマーカーや血清遊離軽鎖などの因子の影響を検討します。

〔取得する情報〕

アミロイドのタイプ、血清・尿中 M 蛋白、アミロイド浸潤臓器、染色体異常、UA、NT-proBNP、BNP、トロポニン T、FLC、寛解導入療法、幹細胞採取レジメン、移植前 Best response(血液学的効果・臨床効果)、造血幹細胞移植後治療、移植後 Best response(血液学的効果・臨床効果)、転帰および最終観察日

研究事務局へ対象者の診療情報を郵送にて送付し、詳しい解析を行う予定です。

他機関への情報の送付を希望されない場合は、送付を停止いたしますので、ご連絡ください。

#### ※先行研究

許可番号：29-179 (初回許可番号 27-41)

研究課題名：造血細胞移植医療の全国調査

許可期間：平成 27 年 5 月 22 日～32 年 3 月 31 日

## 5. 個人情報の取扱いについて

対象者のカルテの情報をこの研究に使用する際には、対象者のお名前の代わりに研究用の番号を付けて取り扱います。対象者と研究用の番号を結びつける対応表のファイルにはパスワードを設定し、九州大学大学院医学研究院病態修復内科学分野のインターネットに接続できないパソコンに保存します。このパソコンが設置されている部屋は、同分野の職員によって入室が管理されており、第三者が立ち入ることはできません。

また、この研究の成果を発表したり、それを元に特許等の申請をしたりする場合にも、対象者が特定できる情報を使用することはありません。

この研究によって取得した情報は、九州大学大学院医学研究院病態修復内科学分野・教授・赤司 浩一の責任の下、厳重な管理を行います。

対象者のカルテの情報を研究事務局へ郵送する際には、九州大学にて上記のような個人情報に関する処理をした後に行いますので対象者を特定できる情報が外部に送られることはありません。

## 6. 試料や情報の保管等について

この研究において得られた対象者のカルテの情報等は原則としてこの研究のために使用し、研究終了後は、九州大学大学院医学研究院病態修復内科学分野において同分野教授赤司浩一の責任の下、10年間保存した後、研究用の番号等を消去し、廃棄します。

また、この研究で得られた対象者の情報は、将来計画・実施される別の医学研究にとっても大変貴重なものとなる可能性があります。そこで、前述の期間を超えて保管し、将来新たに計画・実施される医学研究にも使用させていただきたいと考えています。その研究を行う場合には、改めてその研究計画を倫理審査委員会において審査し、承認された後に行います。

## 7. 研究に関する情報や個人情報の開示について

この研究に参加してくださった方々の個人情報の保護や、この研究の独創性の確保に支障がない範囲で、この研究の計画書や研究の方法に関する資料をご覧いただくことができます。資料の閲覧を希望される方は、ご連絡ください。

また、ご本人等からの求めに応じて、保有する個人情報を開示します。情報の開示を希望される方は、ご連絡ください。

## 8. 研究の実施体制について

この研究は以下の体制で実施します。

研究実施場所 (分野名等)	大学病院 血液・腫瘍・心血管内科
研究責任者	医学研究院病態修復内科学分野 教授 赤司浩一
研究分担者	医学研究院病態修復内科学分野・准教授・宮本敏浩 大学病院遺伝子細胞療法部・准教授・前田高宏 大学病院血液・腫瘍・心血管内科・講師・竹中克斗 大学病院血液・腫瘍・心血管内科・助教講師・加藤光次 大学病院血液・腫瘍・心血管内科・助教・沼田晃彦 大学病院血液・腫瘍・心血管内科・助教・吉本五一 大学病院血液・腫瘍・心血管内科・助教・森康雄 大学病院遺伝子細胞療法部・助教・亀崎健次郎 応用病態修復学講座・助教・菊繁吉謙

共同研究施設	共同研究施設名 / 研究責任者の職名・氏名	役割
	① 独立行政法人地域医療機能推進機構 京都鞍馬口医療センター・血液内科・部長・淵田 真一	研究代表者/ 研究事務局 および解析
及び		
試料・情報の 提供のみ行う 施設	JDCHCT/JSHCT が実施する造血細胞移植医療の全国調査に参加している移植施設	情報の収集

## 9. 相談窓口について

この研究に関してご質問や相談等ある場合は、下記担当者までご連絡ください。

事務局 (相談窓口)	担当者：医学研究院病態修復内科学分野・准教授・宮本敏浩 連絡先：〔TEL〕 092-642-5230（内線 2492） 〔FAX〕 092-642-5315 メールアドレス：toshmiya@intmed1.med.kyushu-u.ac.jp
---------------	---