

## 人を対象とする医学系研究に関する情報の公開について

当センターでは、下記の研究に対して当センターで保有する既存試料・情報を提供しています。この研究は、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づいて、研究対象者となられる方から同意をいただくことに代えて、情報を公開することにより実施しております。この研究に関するお問い合わせ、研究参加への拒否依頼などがありましたら、下記の問い合わせ先までご連絡ください。

## 記

提供元責任者 氏名・所属部署	地方独立行政法人 大阪府立病院機構 大阪母子医療センター 澤田明久 血液・腫瘍科
研究課題名	小児造血幹細胞移植における非典型溶血性尿毒症症候群の出現とそれに対するエク リズマブの安全性・有効性についての後方視的調査研究
研究代表者 氏名・所属機関	九州大学大学院医学研究院成長発達医学分野 小児科 大賀正一
研究対象者 (研究対象者等が自身 が対象者であると容易 に知り得るように記載)	2014 年末までにエクリズマブ (ソリリス) を使用した造血細胞移植患者
研究期間	倫理委員会承認日 ~ 2018 年 12 月 31 日
研究目的・方法 (意義、目的、方法、 試料等の二次利用等)	<p>日本小児血液・がん学会止血・血栓委員会では、先天性の止血・血栓異常ならびに小児血液・腫瘍性疾患等に随伴する後天性の止血・血栓異常に関して、病態の理解と診断・治療の改善を目指した活動を行うことを目的として研究活動を行っています。</p> <p>造血幹細胞移植後にしばしば経験される血栓性微小血管障害(TMA)は、血栓性血小板減少性紫斑病 (TTP)、溶血性尿毒症症候群 (HUS) などと呼ばれる微小血管の障害を主体とした複雑な病態です。その臨床像は広範で、適切な治療を行っても致死的な経過を呈することも少なくありません。これらの移植後の微小血管障害の病因病態には未だ明らかでない点が多く、効果的な予防法・治療法の確立が求められています。</p> <p>一方、これら微小血管障害の一型である広義の HUS には移植以外に病原性大腸菌などによる腸炎や薬物、遺伝的素因など様々な誘因があることが知られています。このうち原因不明あるいは先天性 HUS の病態に補体と呼ばれる免疫調節機構を制御する遺伝子異常による機能破綻が関わっていることが最近明らかとなり、その治療薬としてエクリズマブが開発されました。このエクリズマブは原因不明あるいは先天性 HUS の大部分を占める非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) の治療薬とされています。</p> <p>最近、海外の一部の研究者から、エクリズマブは造血幹細胞移植後の TMA に対し</p>

でも効果がある可能性が報告されました。本邦ではエクリズマブの造血幹細胞移植後の TMA に対する効果は臨床試験などで科学的に証明されておらず、エクリズマブが真に有効とされる aHUS の診断はしばしば困難です。aHUS の正確な診断がなされないまま安易にエクリズマブ投与がなされている症例があることに複数の学会から注意が呼びかけられています。

そこで本研究では、本邦における造血幹細胞移植後の aHUS の疫学調査、及び移植後 TMA に対するエクリズマブの使用状況を調査することにより、移植後 TMA におけるエクリズマブ治療の位置付けを明らかにすることを目的として調査を行います。

日本小児血液・がん学会止血・血栓委員会として、最近 5 年間 (2010-2015 年) に 21 歳未満で造血幹細胞移植を実施された方の中で、移植後に非典型溶血性尿毒症症候群あるいはその疑い例と診断された方の臨床像を把握する目的で疫学調査を行わせていただきます。この研究活動では、日本小児血液・がん学会研修施設 ([http://www.jspho.jp/specialist/training\\_facility\\_list.html](http://www.jspho.jp/specialist/training_facility_list.html)) の担当医から、既に診療記録に記載されている医療情報のうち造血幹細胞移植後非典型溶血性尿毒症症候群の診断・治療・経過・予後に関連する情報について調査票を用いて収集させていただきます。

調査票では、収集した情報の不明点などについて担当医に確認する際に照合できるように、日本小児血液・がん学会疾患登録番号と日本造血細胞移植学会一元化登録番号を提供していただきます。これらの情報は、患者さまが診療を受けていらっしゃる施設の対応表を確認しない限り、それだけで患者さまのお名前や住所などの個人を特定する情報とはなりませんのでご安心ください。また、本研究のために収集させていただく情報については、個人の人権尊重という理念の下で、適切かつ慎重な管理を要する必要があるとの認識にたち策定した「個人情報保護ポリシー ([http://www.jplsg.jp/frel2\\_privacypolicy.htm](http://www.jplsg.jp/frel2_privacypolicy.htm))」に従って、その保護に最大限の努力を払い、適切に管理させていただきます。調査対象となった患者さまへの不利益は一切ございません。尚、研究成果を公表する際にも個人が特定されるようなことはありません。

尚、本研究に参加を希望されない患者様は主治医にご連絡ください。主治医を通じて研究代表者に連絡され資料を削除させていただきます。但し、学会等で研究成果を公表した後には削除はできません。

回収した調査票は兵庫県立こども病院臨床研究センター (研究事務局: 小阪嘉之 TEL: 078-945-7300, FAX: 078-302-1023) で保管されます。この疫学調査により得られたデータは、小児造血幹細胞移植後の非典型溶血性尿毒症症候群の標準的な治療法を確立する上で有用な情報になります。

提供する試料・情報の項目や種類

移植日, 移植時病期, 前処置情報 (前処置薬剤の種類/量), 移植細胞源 (骨髄, 末梢血, 臍帯血), HLA 一致度, ドナー種別 (自家, 同胞, 同胞以外の血縁者, 非血縁), 移植細胞数, 生着日, aHUS 診断日, 診断根拠, 治療の種別, エクリズマブ投与の有無, 治療に対する反応性, aHUS 以外の合併症の種別, 生存情報 (死亡の有無, 死亡

	日または最終観察日), 死因
外部への試料・情報の提供	Word 形式の調査票に記入し, FAX または郵送またはメール添付で提出されます. 対象者の情報は匿名化され個人を特定できない形で提供されます.
研究組織 (提供する試料・情報を利用する者の範囲)	研究責任者: 九州大学大学院 小児科 大賀正一 研究分担者: 兵庫県立こども病院 長谷川 大一郎, 小阪嘉之 情報提供組織: 日本小児血液・がん学会止血・血栓委員会
研究計画書などの研究関連資料の入手方法, または閲覧方法	本研究の研究対象者(等)が, 研究計画書及び研究の方法に関する資料を入手または閲覧をご希望される場合, 他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護等に支障のない範囲で入手, または閲覧ができます。下記の間合せ先までご連絡ください。
個人情報の開示に係る手続き	本研究の研究対象者(等)から, 個人情報の開示の求めがあった場合, 保有する個人情報のうちその本人に関するものに限って, 地方独立行政法人大阪府立病院機構 個人情報の取扱及び管理に関する規程に基づいて, 開示手続きをとりますので, 下記の間い合わせ先までご連絡下さい。
照会先および研究への利用を拒否する場合の連絡先	地方独立行政法人大阪府立病院機構大阪母子医療センター 血液・腫瘍科 澤田明久 電話 0725-56-1220 (代表)