

研究課題名：

造血幹細胞移植分野におけるドラッグ・ラグ解消のための新薬・未承認薬使用状況の検討

1. 研究の趣旨：本研究は日本造血細胞移植学会が収集するデータの提供を受けて実施する研究として計画されたものです。匿名化されたデータを用いて、移植前後に使用される新薬や未承認薬の使用件数の集計を行います。

2. 研究の目的：造血細胞移植は、難治性の血液疾患に対する有効な治療の一つです。移植前後に、抗がん剤、免疫抑制剤、合併症の治療薬、感染症治療薬などが用いられます。これらの薬の中には、海外で承認されていても日本では承認されていない薬があり、欧米と日本の承認状況に差があるドラッグ・ラグが問題になる場合があります。移植医療の特殊性から、国内で承認された薬剤だけでは患者さんの治療が困難な場合もあり、国内未承認薬や、承認された薬剤が用法用量外で使用されることがあります。移植後合併症は比較的稀少な疾患であり、薬剤を開発する国内の企業にとっては市場規模が小さく、承認を得るための治験が企業によりなされにくいという問題点があります。一方、当局による薬剤承認を目指して、研究者による使用調査研究や医師主導治験が実施されており、ドラッグ・ラグ解消による移植成績の改善が望まれています。日本造血細胞移植学会および日本造血細胞移植データセンターでは、疾患、移植の種類、使用薬剤、移植後合併症、生存等の情報を収集し、移植に用いられる約50の薬剤の使用情報が収集されていますが、これまでに新薬等の使用状況に関する網羅的な検討は行われていません。本研究の結果は、厚労省未承認薬検討会議等におけるサポートデータになりうることを期待され、患者数が極めて限られる希少疾病用医薬品について未承認薬の実用化加速に役立つ可能性があります。

3. 研究の方法：日本造血細胞移植学会らが構成する造血細胞移植一元管理プログラム日本造血細胞移植学会では、移植医療発展のために必要な造血細胞移植の実態調査を行うため、平成6年から全国調査を実施し、移植件数と成績の把握を行ってきました。全国登録データベース(TRUMP)より匿名化データの提供を受けて実施します。2000年以降の造血幹細胞移植を受けた症例を対象とし、登録データのうち対象患者さんは59000人程度になると予想されます。データから薬剤や薬剤の使用が必要となった原因などの集計を行います。新薬や未承認薬を含めた薬剤の使用件数の推移を薬剤ごとに集計し、国内外の医薬品承認の有無と薬剤使用件数の経時的推移との関係を検討します。また、移植細胞の種類、年齢、疾患、合併症、移植時期などの情報と薬剤使用件数のとの関連についても解析を行います。この研究で、患者さんをお願いする作業などはありません。日本造血細胞移植学会や研究者が作業を行います。この研究で行われるデータの解析は、既に学会によって収集された過去の移植の登録データを用いて行われますので、患者さんに危険や不利益は発生しません。本研究は匿名化データを使用していますので、個人情報漏洩の危険はありません。

4. 研究機関：全国の造血細胞移植施設のデータを用います。解析対象となる患者さんの移植を行った施設も共同研究施設になりますが、それぞれの患者さんがどこの移植施設で治療を受けたかについて研究者は把握することはできません。日本造血細胞移植学会に所属する研究者が共同して作業を行います。名古屋大学では解析用データの作成、統計解析と研究業務一般を行います。

5. 連絡先：本研究に関する連絡先は以下の通りです。本研究における移植情報の使用に関して疑問がある方は遠慮なくご連絡ください。

名古屋大学医学部附属病院先端医療・臨床研究支援センター 鋤塚八千代
〒466-8550 名古屋市昭和区鶴舞町65 TEL: 052-744-1957

(苦情の受付先) 名古屋大学医学部総務課
〒466-8550 名古屋市昭和区鶴舞町65 TEL: 052-744-1901