

小児造血不全症候群の後方視的検討

【研究の意義、目的】

小児造血不全症候群は、まれな疾患群です。再生不良性貧血、骨髄異形成症候群を初めとして、Fanconi貧血、先天性赤芽球癆、先天性角化不全症、遺伝性鉄芽球性貧血、先天性好中球減少症、先天性顆粒放出異常症、毛細血管拡張性小脳失調症、一過性骨髄異常増殖症、Congenital dyserythropoietic anemia、Shwachman-Diamond syndrome、先天性血小板減少症、先天性溶血性貧血、分類不能の遺伝性血液疾患、骨髄増殖性疾患、一部の先天性免疫不全も含まれるため、その診断は必ずしも容易ではありません。また、治療や予後に関する情報も十分に解明されていないのが現状です。

今回、本邦において小児造血不全症候群と診断された症例の予後を後方視的に調査することで、この希少な疾患群の臨床経過に関連する情報を明らかにし、病態解明と日常診療において有益な情報を提供できるよう本研究を計画しました。

【研究の方法】

1 研究の対象

名古屋大学医学部附属病院小児科および全国の共同研究施設において、過去7年の間に造血不全症候群と診断された症例を対象とします。除外基準はとくに設定しません。

2 研究の方法

患者さんの登録施設にアンケートを送付し、収集します。収集したアンケート連結可能匿名化し、患者さん毎に以下の項目について調査を行います。

調査項目は、患者さんの生年月日、性別、発症日、発症時年齢、現病歴、既往歴、家族歴、身体所見、末梢血所見とその推移、骨髄検査所見とその推移、染色体検査とその推移、FISH法とその推移、遺伝子検査、施設診断、造血幹細胞移植施行の有無、免疫抑制療法施行の有無、副腎皮質ステロイド投与の有無、性ステロイド投与の有無、免疫抑制剤投与の有無、顆粒球コロニー刺激因子投与の有無、赤血球と血小板の輸血歴、その他の治療介入、骨髄異形成症候群・急性白血病への移行、最終観察日、最終観察日における患者さんの状態、診断施設でのフォロー状況です。

造血幹細胞移植を施行された患者さんに関しては、移植日、幹細胞ソース、ドナー性別、ドナー種別（血縁／非血縁）、ドナーとレシピエントのHLA、輸注細胞数、前処置、移植片対宿主病（GvHD）予防法、生着日、造血回復確認日、キメリズム解析の結果、生着不全の有無、前処置関連毒性、急性GvHDに関する情報、慢性GvHDに関する情報、肝中心静脈閉塞症、肺合併症、出血性膀胱炎、CMV感染症、移植後リンパ増殖性疾患、その他合併症につき追加調査します。

免疫抑制療法を施行された患者さんに関しては、治療開始日、薬剤投与量、治療後3

ヶ月・6ヶ月・12ヶ月・最終観察時点での治療反応、再発の有無、CMV感染症、EBV活性化、リンパ増殖性疾患、血清病、その他合併症につき追加調査します。

研究期間は本研究が倫理委員会に承認されてから2020年6月1日までとします。

【研究機関名】

名古屋大学医学部附属病院小児科

共同研究機関【施設名（共同研究者・肩書）】

名古屋第一赤十字病院病理部（伊藤雅文・病理部 部長）

静岡県立こども病院（渡邊健一郎・血液腫瘍科 科長）

聖路加国際病院（真部淳・小児科 医長）

聖路加国際病院（長谷川大輔・小児科 医幹）

【利益相反開示】

本研究ではサノフィ株式会社より受託研究費を受理しています。データの解析は利益相反関係にある研究責任者、研究分担者、共同研究者もしくはリサーチアシスタントが名古屋大学医学部附属病院小児科医局内で独自に行いますが、研究調査票を用いた後方視検討という本研究の性質上、解析データは追認可能であり、一定水準の公平性が担保できるものと考えます。その他、役職員の利益相反による諸問題を防止・解消するため、名古屋大学医学部・大学院医学系研究科及び医学部附属病院における臨床研究に係る利益相反行為防止内規に従って利益相反を適切に管理します。適宜、名古屋大学医学部臨床研究利益相反マネジメント委員会の審議を受け、必要な範囲で学外に公表することにより社会に対する説明責任を果たします。

【保有する個人情報に関して】

皆様の資料を分析する際には、氏名・住所・生年月日などの個人情報を取り除き、代わりに新しく符号をつけ、どなたのものか分からないようにした上で（連結可能匿名化）厳重に保管します。また、個人情報の開示、訂正、利用停止、または第三者への提供の停止を求められた場合には、厚生労働省の『臨床研究に関する倫理指針』に従い対応いたします。保有する個人情報に関してご質問がある場合は、下記へご連絡ください。

【問い合わせ・苦情の受付先】

○問い合わせ先

説明担当者氏名：名古屋大学医学部附属病院 小児科 講師 濱 麻人

（電話052-744-2294、ファックス052-744-2309）

○苦情の受付先

名古屋大学医学部経営企画課：(052-744-2479)