

# 低リスク骨髄異形成症候群における疫学調査 (多施設共同後方視的研究)

## 研究計画書

第1版 2020年4月26日作成

1. 研究背景と目的
2. 調査対象と調査データ
3. 調査方法
4. 研究期間・予定症例数について
5. 参加者への説明同意について
6. 収集されたデータの管理
7. 倫理審査
8. 調査および結果の公表
9. 研究機関の長への報告内容及び方法
10. 利益相反
11. 備考
12. 研究組織
13. 参考文献

低リスク骨髄異形成症候群における疫学調査（多施設共同後方視的研究）

研究代表者 東京大学医学部附属病院血液・腫瘍内科

黒川 峰夫

研究事務局 東京大学医学部附属病院 血液・腫瘍内科

担当：助教 中崎久美

住所：東京都文京区本郷7-3-1

電話：03-3815-5411（内線 35602）

FAX：03-5804-6261

### 1. 研究背景と目的

低リスクの骨髄異形成症候群(MDS)は様々な病態を含んでおり、サイトカイン製剤、メチル化阻害剤、輸血、鉄キレート療法、5q-症候群に対するレナリドミド、免疫抑制剤など様々な治療選択がある疾患群である。MDSではリスク別にある程度の治療選択肢がガイド

ラインとして示されているものの、IPSSやIPSS-Rで同じリスクであっても、輸血や免疫抑制剤を使用する場合、経過観察のみ施行する場合など、治療選択肢が複数挙げられている[1-3]。診断には骨髄検査が必須であるが、骨髄検査以外の診断時の検査として、例えば末梢血のPNH型血球陽性では免疫抑制剤に対する貧血の改善が得られやすいという報告もある。

厚生労働科学研究費/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の一環として、低リスク骨髄異形成症候群における治療選択において実際に選択されている診断時検査項目と結果、治療と予後について疫学調査を行う。

## 2. 調査対象と調査データ

調査対象は、全国の日本血液学会研修施設で2013年1月1日から2018年12月31日までの間に診断された低リスク骨髄異形成症候群症例を対象とする。

年齢15歳以上を対象とし、性別は問わない。調査対象となるデータは治療経過に関する既存の臨床データと予後に関するデータであり、新たな検体収集や測定は行わない。

本調査で収集するデータはカルテに記録されている患者の診断日、末梢血の血算値や骨髄穿刺・生検所見、染色体・カルテに記載された遺伝子検査の結果、選択された治療法、輸血依存の有無や生存に関する治療効果などからなる。

## 3. 調査方法

調査対象となる施設（別紙参照）に対し、症例調査票を郵送し、アンケートを行う。本研究では症例調査票を用いて低リスクMDS症例の詳細なデータを得るために行う。

症例調査票では対象症例に対して、診断日や患者背景、治療内容等の詳細を調査する。別紙添付の「症例調査票」に調査項目が示されている。データは全て後方視的に収集する。

リスク別や診断時検査結果による治療選択、あるいはそれらによる予後（生存・白血病への進展、輸血依存）について解析する。

## 4. 研究期間・予定症例数について

研究期間は承認後5年、予定症例数は3000件とする。

## 5. 参加者への説明同意について

本研究は「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」の第12-(2)-イ「人体から採取された試料を用いない場合」に位置づけられるため、研究対象者からインフォームドコンセント(IC)を受けることを必ずしも要しないとされている。

本研究が対象者に健康被害を及ぼす危険性がないこと、個人情報漏洩する危険性が極めて少ないこと、後方視的臨床研究であるため個別のIC取得が現実的には困難であること、新たな検査や薬剤の使用を伴わないこと、などから本調査研究には説明・同意文書は必要な

いと考えられる。但し、本研究の目的を含む研究の実施内容については、必要な情報をホームページに公開し、必要に応じて研究への参加を拒否できるようにする。

#### 6. 収集されたデータの管理について

患者氏名や患者IDは除去して、参加施設毎に対象各患者に対して付与した症例番号を用いて対応表のある匿名化を行い、調査票には個人を特定できる情報を記載しない。したがって収集されたデータには個人情報が含まれないが、研究が完遂して研究終了後5年後にデータファイルを廃棄することにより、情報の漏洩を防ぐ。また、研究結果の発表においても、研究対象者を特定できないようにした上で学会や学術雑誌に公表する。

#### 7. 倫理審査

本研究は各施設での倫理委員会での承認または東大での一括審査による承認を要する。前者では各施設の倫理審査委員会における審査を踏まえて施設長の許可を得た上で調査を行うものとする。これは「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」第7-1, 2に基づくものである。

#### 8. 調査および結果の公表

研究結果については、集計結果を学会発表あるいは論文として公表する予定である。当然ながらその際には研究対象者を特定できないようにした形で行う。

#### 9. 研究機関の長への報告内容及び方法

年1回研究機関の長に対し、研究の実施状況及び研究計画の遵守について報告する。

#### 10. 利益相反

各研究参加施設において適切に利益相反について管理する。

#### 11. 備考

本研究に係る研究資金は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班）により拠出する。なお、研究参加者に対する謝金はない。

#### 12. 研究組織

低リスク骨髄異形成症候群における疫学調査（多施設共同後方視的研究）

研究代表者：東京大学医学部附属病院 血液・腫瘍内科

黒川 峰夫

研究事務局 東京大学医学部附属病院 血液・腫瘍内科

担当：助教 中崎久美

住所 〒113-8655 東京都文京区本郷7-3-1

電話：03-3815-5411（内線 35602）

FAX：03-5804-6261

### 13. 参考文献

- [1] National Comprehensive Cancer Network, NCCN clinical practice guidelines in oncology; Myelodysplastic Syndromes (ver1. 2020)  
[https://www.nccn.org/professionals/physician\\_gls/pdf/mds.pdf](https://www.nccn.org/professionals/physician_gls/pdf/mds.pdf)
- [2] 日本血液学会編, 造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版 p144-1640
- [3] 特発性造血障害に関する調査研究班（厚生労働省科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業）, 骨髄造血障害疾患の診療の参照ガイド平成28年版度改訂版  
[http://zoketsushogaihan.com/file/guideline\\_H28/04](http://zoketsushogaihan.com/file/guideline_H28/04).
- [4] Wang H, Chuhjo T, Yasue S, Omine M, Nakao S. Significance of a minor population of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria-type cells in bone marrow failure syndrome. *Blood*.100(12):3897-902, 2002

## 東京大学医学部附属病院血液・腫瘍内科にて骨髄異形成症候群で

### ご加療中の方、診療を受けられた方、およびそのご家族の方へ

当院では「低リスク骨髄異形成症候群における疫学観察研究（多施設共同後方視的研究）」に参加しております。この研究は低リスク骨髄異形成症候群の患者さんの治療前、治療中、治療後のデータをまとめて解析することにより、今後の治療に役立てるための研究です。

【研究課題】低リスク骨髄異形成症候群における疫学観察研究（多施設共同後方視的研究）  
（審査番号： ）

【研究機関名及び本学の研究責任者氏名】

この研究が行われる研究機関と研究責任者は次に示すとおりです。

主任研究機関 東京大学医学部附属病院 血液・腫瘍内科  
研究責任者 黒川峰夫 血液・腫瘍内科 教授  
担当業務 データの収集、データの保管、データの解析を行う。

【共同研究機関】

研究機関 データの収集、データの保管を行う。）

研究参加施設：日本血液学会参加施設の中で協力を得られる施設（別紙参照）

【研究期間】

承認後から 2025 年 2 月 28 日まで

【対象となる方】

2013年1月1日から2018年12月31日の間に当院血液・腫瘍内科で骨髄異形成症候群と診断された方。

加療中の方以外に、すでにお亡くなりになられた方も含めて過去に診療を受けた方も対象になります。

【研究の目的】

本研究では、以下の点について明らかにすることを目的としています。

(1) 我が国における低リスク骨髄異形成症候群に対する治療内容とその成績

【研究の方法】

この研究は、東京大学医学部倫理委員会の承認を受け、東京大学医学部附属病院長の許可を受けて実施するものです。これまでの診療でカルテに記録されている血液検査や尿検査結果、病理検査などの臨床所見データ、染色体・カルテに記載された遺伝子検査の結果、治療レジメン、有害事象とグレード、効果判定、サルベージ治療レジメン、診断日、治療開始日、再発日、最終生存確認日、死亡日を収集して行う研究です。患者さんに新たにご負担いただくことはありません。

収集されたデータはその後研究事務局にて、データは施錠下で保管するなど、十分な安全管理措置を講じ適正に管理されます。

#### 【個人情報の保護】

この研究に関わって収集される情報・データ等は、外部に漏えいすることのないよう、慎重に取り扱う必要があります。

また、あなたの臨床所見データは解析・保存されますが、氏名・住所等の個人情報を削り、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、当研究室において中崎久美（管理責任者）がパスワードロックをかけたパソコンで厳重に保管します。ただし、必要な場合には、当研究室においてこの符号を元の氏名等に戻す操作を行うこともできます。

この研究のためにご自分（あるいはご家族）のデータを使用してほしくない場合は主治医にお伝えいただくか、下記の研究事務局まで 2020年9月30日までにご連絡ください。成人で十分な判断能力のない場合、成人で意識のない場合、すでにお亡くなりになっている場合は、代諾者等の方からこの研究のためにご自分のデータを使用してほしくないことを主治医もしくは下記の研究事務局まで 2020年9月30日までにご連絡ください。

ご連絡をいただかなかった場合、ご了承いただいたものとさせていただきます。

研究結果は、個人が特定出来ない形式で学会等で発表されます。収集したデータは厳重な管理のもと、研究終了後5年間保存されます。なお研究データを統計データとしてまとめたものについてはお問い合わせがあれば開示いたしますので下記までご連絡ください。ご不明な点がありましたら主治医または研究事務局へお尋ねください。

尚、あなたへの謝金はございません。

#### 【その他】

本研究に関して、開示すべき利益相反関係はありません。

2020年 月 日

#### 【問い合わせ先】

研究事務局 東京大学医学部附属病院 血液・腫瘍内科

担当：助教 中崎久美

住所：東京都文京区本郷7-3-1

電話：03-3815-5411（内線 35602）

FAX：03-5804-6261