

## 小児再発・難治性急性骨髄性白血病患者におけるFLAG 療法の実態調査の実施について

(大分大学小児科 HP)

### 調査の背景：

本調査は、日本小児血液・がん学会 保険診療委員会による静注用フルダラビンとシタラビン、G-CSF を併用した化学療法（FLAG 療法）に関する実態調査です。急性骨髄性白血病(AML)の再発・難治例に対して、欧米ではFLAG 療法の使用実績と報告が多数あり、わが国でも成人に対するFLAG 療法の第II 相臨床試験で、その有効性と安全性が報告されています。日本小児白血病リンパ腫研究グループ(JPLSG)においても臨床試験AML-R11 が実施され、すでに臨床現場ではしばしば利用されていますが、フルダラ®はAML に対する保険適応を有しておらず、G-CSF も化学療法薬と同時に投与されることが認められていません。そこで、2017 年に本学会保険診療委員会と日本血液学会診療委員会が、公知申請によるフルダラビンとG-CSF 併用療法（FLAG 療法）の再発・難治性AML に対する適応拡大を申請しました。厚生労働省「医療上必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」にて検討された結果、本申請を評価するにあたっては、国内の患者に対するFLAG 療法の使用実態調査を実施するよう指示がありました。そこで血液学会と共に調査し、保険適応拡大の適正について判断する資料を作成することになりました。成人例の調査は血液学会が担当するため準備を進めています。

小児例の調査実務担当者施設である九州がんセンターの倫理審査委員会承認を得ており、日本小児血液・がん学会理事長の承認と日本小児がん研究グループ（JCCG）運営委員会での承認を得られたら実施する運びとなりました。

### 調査の目的

フルダラ®は造血幹細胞移植における前治療（移植前処置）において用いられる薬剤です。国内において、フルダラ®はFLAG 療法においては通常1 日1 回25-30mg/kg で5 日連日の投薬が行われています。これまで本邦での年間実施数等の多施設間での実態調査は行われず、詳細は不明でした。今回、JCCG 参加施設におけるFLAG 療法の小児例使用経験を集積し、保険適応を検討するうえでの資料としたいと思います。

### 調査の対象

2013 年1 月1 日から2018 年12 月31 日までの間で、フルダラ®を含むFLAG 療法を受けた小児患者

### 調査の期間

2019 年6 月1 日（承認日）～12 月31 日（報告書作成までの時期を含みます）

### 調査の方法

JCCG 参加施設に対し、小児AML に対するFLAG 療法の経験の有無を調査します（一次調査）。同療法の経験がある施設に対して調査票を送付し、臨床経過の集計を行います。調査票には、FLAG 療法を受けた患者さんの、治療時の年齢、診断名が含まれますが、氏名、生年月日、住所など個人を特定できるような内容は含まれません。調査票には各施設でつけられる整理番号が記され、整理番号とカルテ番号など個人を特定できる情報は、各施設の中で

厳重に管理されます。調査実施担当施設である九州がんセンターでは調査票に記載された内容がどこの誰のものかわかりません。調査票は調査期間が終了した時点で、シュレッダーなどを用い、適切に破棄します。

調査への参加は任意です

本調査は過去の診療記録のみを使用し、調査参加者へ健康被害などが生じる可能性は低いと思われれます。また、今回の調査結果は学会や医学専門誌での公表は行わず、厚生労働省未承認薬適応外薬検討会議、調査参加施設およびJCCG 疾患委員会のみ報告を予定しています。

したがって、調査に参加される方への直接的な説明は行いませんが、このホームページをご覧になって、調査参加を希望されない場合は、担当医にその旨をお伝えください。

すでに担当医が調査票を送付したあとも、整理番号で追跡し、調査実施担当施設において調査票は破棄いたしません。

調査参加をお断りになるのは自由ですし、お断りになってもその後の診療で不利益が生じることはありません。ただし、調査結果の集計後、報告書が作成されたあとは、集計結果から個々の情報を消去することができなくなりますので、ご承知ください。

本調査により、参加者に費用負担は生じません。本調査の計画書はいつでもご覧になることができますので、各施設の担当医あるいは、本調査の実施責任者へお問い合わせください。

調査主体：日本小児血液・がん学会 保険診療委員会

調査代表者：今泉 益栄

宮城県立こども病院 血液腫瘍科

〒989-3126 仙台市青葉区落合4-3-17

TEL：022-391-5111 FAX：022-391-5118

E-mail：imaizumi@miyagi-children.or.jp

調査実務担当者：中山 秀樹

国立病院機構 九州がんセンター 小児科

〒811-1395 福岡市南区野多目3-1-1

TEL：092-541-3231 FAX：092-552-8503

E-mail：hnkym415@gmail.com, nakayama.hideki.up@mail.hosp.go.jp

本学の責任者：末延聡一

大分大学医学部 大分こども急性救急疾患学部門医療・研究事業（小児科）教授

〒879-5593 大分県由布市挾間町医大ヶ丘1-1

TEL：097-586-6830（小児科外来） FAX：097-586-5839（小児科医局）

E-mail：suenobu@oita-u.ac.jp