

臨床研究「免疫抑制療法未治療の再生不良性貧血患者を対象とした 531-003/531-004 試験（第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験）終了後の観察研究（531-005 試験）」について

筑波大学附属病院血液内科では、標題の臨床研究を実施しております。

本研究の概要は以下のとおりです。

① 研究の目的

患者様が参加したロミプロスチムの治験は、ロミプロスチムの効果と安全性を検討することを目的としていますが、ロミプロスチムの投与が終了した後（治験が終了した後）の病気の経過や、治療の長期的な有効性・安全性などを確認することができません。今回の研究は、治験に参加した患者様を対象に、治験が終わった後の病気の経過や、治療の有効性・安全性、別の治療を行った場合のその有効性・安全性を長期的に観察することが目的です。長期的な有効性や安全性を確認することができれば、同じ病気の患者様が治療法を選択するうえでの重要な情報となるため、今回の研究を計画しました。

② 研究対象者

2019年2月～2021年3月にロミプロスチムの治験（531-003 試験）に参加された方  
2019年8月～2022年5月にロミプロスチムの治験（531-004 試験）に参加された方  
（亡くなられた方を含みます。）

③ 研究期間：倫理審査委員会承認後～2025年6月30日まで

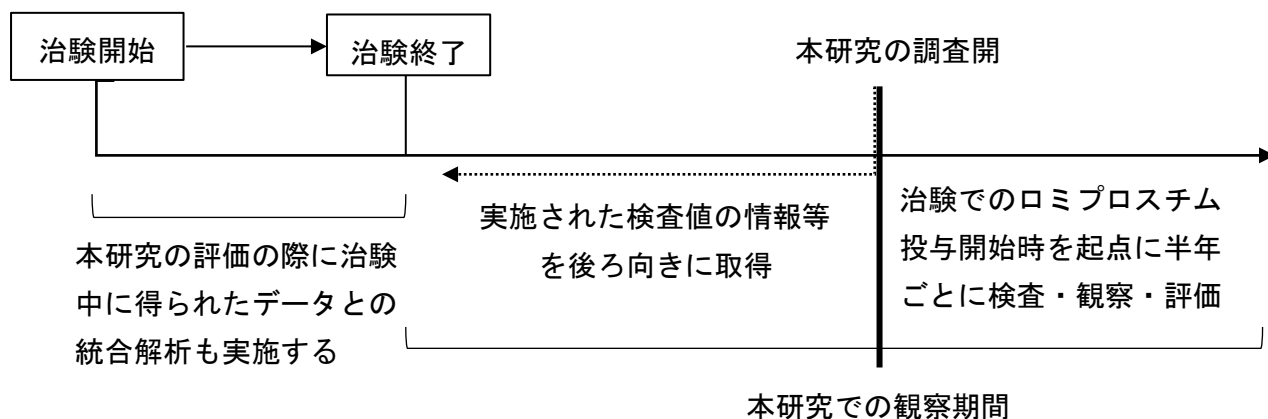
（5年後に変更申請、最長2026年6月30日までの予定）

④ 研究の方法

本研究全体の流れを図にしました。

本研究は通常の治療経過での医療情報を観察・評価する「観察研究」ですので、本研究のため特別に使用する薬剤はありませんし、特別な検査も行いません。

また、治験中に得られたデータも利用します。



本研究の参加期間は最長5年です。本研究のスケジュールを表に示します。

本研究では、治験や通常の診療で得られたデータのみを利用するため、本研究のために新たに検査等を行いません。

調査・検査・評価項目	同意取得～登録	531-003/ 531-004 試験で取得したデータの利用	観察期（最長 5 年間）										中止時
			27 週* ±8 週	53 週* ±8 週	79 週 ±8 週	105 週 ±8 週	131 週 ±8 週	157 週 ±8 週	183 週 ±8 週	209 週 ±8 週	235 週 ±8 週	261 週 ±8 週	
治験でのロミプロスチム投与開始日： 1 週			0.5 年	1 年	1.5 年	2 年	2.5 年	3 年	3.5 年	4 年	4.5 年	5 年	
同意取得	○												
患者背景	○	○											
ロミプロスチム (AMG531) 投与		○											
ATG 投与		○											
CsA 投与		○											
血清中 AMG531 濃度		○											
抗 AMG531 抗体・ 抗 TPO 抗体		○											
血漿 TPO 濃度		○											
合併症・既往歴	○	○											
症状・所見		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
GIMEMA 出血指標 による評価		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
AML/MDS への移行		○	随時										
身長、体重		○											
バイタルサイン		○											
12 誘導心電図		○											
血液学的検査		○	随時										
血液生化学検査		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
血中鉄関連パラメータ		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
血液凝固線溶系		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
血球フローサイトメトリ		○											
HBV-DNA		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
EBV-DNA		○	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
妊娠検査		○											
QOL 評価		○											
有害事象		○	随時										
併用薬・併用療法		○	随時										
AA 治療薬・療法			随時										
血小板輸血、赤血球 輸血、G-CSF 製剤 投与		○	随時										
骨髄検査		○	必要時										

● 治験（※531 - 003 試験あるいは 531 - 004 試験で、27 週目と 53 週目のデータを取得している場合）および診療で実施された検査値があった場合にそれを利用します。もし、検査結果がなくても、追加検査は行いません。

● もし、他の医療機関で実施された検査値などのデータが、当医療機関に提供されていた場合は、

そのデータも利用いたします。

⑤ 試料・情報の項目

診療の際に得た情報を使用します。

情報 症状・所見、出血状態の評価、血液学的検査データ、血液生化学検査データ、有害事象の発生状況、併用薬・併用療法、再生不良性貧血に対する治療薬・療法の状況、血小板輸血・赤血球輸血・G-CSF 製剤の投与状況、骨髄検査結果

⑥ 試料・情報の第三者への提供について

提供された情報は、解析のため株式会社インテリム、株式会社アイクロスへ提供されます。

もし、上記の機関以外へ本データを提供する場合には、倫理委員会へ本研究計画の変更を申請し、承認を得ます。

また当院ならびに協和キリン株式会社は、この貴重なデータを本研究で使用するとともに、下記に示した目的のために使用させていただく可能性があります。

①国内外の医薬品開発に関わる研究

(国内外の電子的な医療情報の収集やデータベース構築などを含む) ※

②医薬品の情報を含む文書(医薬品の添付文書など)の作成および使用

③論文作成および公表ならびに学会発表

④医薬品を正しく使うための情報を盛り込んだ資料の作成および使用

⑤医学系研究を目的として開示を要請する、医師、研究者、他の製薬会社や医療機関などの日本国内外の第三者などに対する開示(試験依頼者は開示するかどうかを十分に検討いたします。)

※本研究のために集めたデータを、将来、本研究とは別の研究に利用することを「データの二次利用」といいます。データの二次利用をする場合は、個人を特定できない形で、改めてその別の研究の研究代表者が所属する施設、協和キリン株式会社等の倫理審査委員会で承認を得たのちに利用します。二次利用が決定した場合は、協和キリン株式会社のホームページ等にて、情報公開します。

⑦ 試料・情報の管理について責任を有する者

研究責任者 小原 直(筑波大学附属病院 血液内科 教授)

⑧ 研究機関名および研究責任者名

医療機関名 診療科名	研究責任医師
国立大学法人 金沢大学附属病院 血液内科	山崎 宏人
独立行政法人国立病院機構 熊本医療センター 血液内科	河北 敏郎
NTT 東日本関東病院 血液内科	臼杵 憲祐
久留米大学医学部附属病院血液・腫瘍内科	長藤 宏司
筑波大学附属病院 血液内科	小原 直
武蔵野赤十字病院 血液内科	押川 学

埼玉医科大学総合医療センター 血液内科	木崎 昌弘
愛知県厚生農業協同組合連合会安城更生病院 血液・腫瘍内科	澤 正史
近畿大学奈良病院 血液内科	花本 仁
日本赤十字社大阪赤十字病院 血液内科	今田 和典

#### 韓国

The Catholic University of Korea, Seoul St. Mary's Hospital	Jong Wook, Lee
Sungkyunkwan University School of medicine	Jun Ho, Jang
Seoul National University Hospital	Sung Soo, Yoon
Ewha womans university medical center	Young cheol, Moon
Severance Hospital	Jun Won, Jung

#### 台湾

Taipei Veterance General Hospital	Jyh-Pyng Gau
-----------------------------------	--------------

#### ⑨ 本研究への参加を希望されない場合

情報が当該研究に用いられることについて、患者様もしくは患者様の代理人の方にご了承いただけない場合には、研究対象としませんので、下記の問い合わせ先までお申出ください。なお、研究結果が既に医学雑誌への掲載や学会発表がなされている場合、データを取り消すことは困難な場合もあります。

#### ⑩ 問い合わせ連絡先

筑波大学附属病院：〒305-8576 茨城県つくば市天久保 2-1-1

所属・担当者名：血液内科 小原 直

連絡先：

029-853-3127(血液内科オフィス；平日 9:00 ~ 17:00)

029-853-3525(防災センター、上記以外の時間帯)