

急性骨髄性白血病におけるベネトクラクスを用いた化学療法の後方視的検討 の研究について

この度海老名総合病院血液内科では入院・通院されていた患者さんの診療情報を用いた研究を実施させていただきます。

1. 研究目的

必要性（意義）：高齢者や強化化学療法が非適応の急性骨髄性白血病患者の予後は不良であるが、近年ベネトクラクス（商品名：ベネクレクタ）が承認され、治療の選択肢が広がっている。通常ベネトクラクスはアザシチジンと併用されるが、pivotal study の VIALE-A 試験ではアザシチジン（AZA）治療歴のある患者は除外されており、リアルワールドで AZA 治療歴のある患者でどのくらいの有効性があるのかはわかっていない。また、ベネトクラクスはシタラビンとの併用でも用いられているが、AZA 治療歴のある患者に対して AZA+ベネクレクタもしくはシタラビン+ベネクレクタのいずれが優れているのかも不明である。本研究では、当院におけるベネクレクタを用いた化学療法（ベネクレクタ+AZA もしくはベネクレクタ+シタラビン）の治療成績を後方視的に解析し、それぞれの治療のリアルワールドデータを明らかにし、さらに AZA 治療歴の有無による治療効果の差を明らかにすることを目的とする。

2. 研究方法

研究対象：ベネトクラクス（商品名：ベネクレクタ）が日本で承認された 2021 年 3 月 23 日～2025 年 12 月 31 日に海老名総合病院及び海老名メディカルプラザでベネクレクタを用いた化学療法を行った患者を対象とする。

実施期間：承認日～2030 年 4 月 1 日

研究方法：①患者データの抽出：

【患者背景】以下の患者背景をカルテ情報から後方視的に抽出する。

年齢、性別、PS、AML type (de novo vs secondary)、染色体情報、FLT3 遺伝子変異の有無、キメラ遺伝子の有無、白血球数、ヘモグロビン濃度、血小板数、骨髄芽球割合、前治療の有無と内容、その他ベースラインの合併症

【治療予後】化学療法による最良治療効果判定、化学療法に伴う血液学および非血液学的副作用の発現、効果発現までのコース数、生存の有無をカルテ情報から後方視的に抽出する。

②統計解析：

1) 患者背景

ベネクレクタ+AZA 群とベネクレクタ+シタラビン群の患者背景について、連続変数は Mann-Whitney U 検定、カテゴリー変数は Fisher 検定で比較を行う

2) 治療効果判定および副作用の発現

治療効果について、完全寛解率（CR）および奏効率（OR）をそれぞれ Fisher 検定で

比較を行う

また、血液学的副作用および非血液学的副作用の発現についてそれぞれ Fisher 検定で比較を行う

3) 生存比較

ベネクレクタ+AZA 群とベネクレクタ+シタラビン群の治療開始からの生存率について Kaplan-Meier 曲線を作成し Log-rank 検定にて評価する

4) サブグループ解析

各患者背景（年齢、性別、PS、AML type (de novo vs secondary)、染色体情報、FLT3 遺伝子変異の有無、キメラ遺伝子の有無、白血球数、ヘモグロビン濃度、血小板数、骨髄芽球割合、前治療の有無）で層別化し、それぞれの治療奏効率について Fisher の正確検定を用いてサブグループ解析を行う。特に、AZA 治療歴のある患者におけるそれぞれの治療の奏効率について着目し、奏効率および生存率の比較を行う。

3. 外部への試料・情報の提供

個人が特定できる情報(氏名、住所、生年月日など)は除外した形でデータ集積を行います。

データの紛失・改ざん・漏洩などを防ぐためデータベースへのアクセスは ID・パスワード等、適切に管理しています。

収集した匿名化データは海外含む学術研究施設に提供されますが、診療の質評価および研究目的以外には使用致しません。研究成果は個人が特定できないような形で発表を行います。

4. 本研究責任者およびお問合せ先

本研究にご質問がありましたら下記の連絡先までお問合せください。お申し出によりそれ以降の分析から個人データを除外することは可能ですが、お申し出時点より前の分析および発表済の研究結果からの削除は出来ない場合がありますのでご承知くださいますよう何卒宜しくお願い致します。

この研究を実施することによる患者さんへの新たな負担は一切ありません。またプライバシー保護について法令等を遵守し研究を行わせて頂きます。

試料・情報について、本研究への利用をのぞまれない場合は以下担当医師にご連絡ください。

施設名 : 海老名総合病院

住所 : 神奈川県海老名市中央 4 丁目 16-1

電話 : 046-233-1311

研究責任者 : 血液内科 原田 介斗