

**若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の
多施設共同非盲検無対照試験**

臨床研究についての説明文書
(代諾者用)

JPLSG-JMML-20

Version 1.0 2021年3月17日

1. はじめに

当院では、最新の医療を患者さんに提供するとともに、より良い治療法や診断法などを開発するための臨床研究を行っています。

臨床研究は、患者さんに参加いただいて、治療方法や診断方法が有効であるか安全であるかを調べることをいいます。

また、当院は日本小児がん研究グループ(JCCG:Japan Children's Cancer Group)に参加しております。

JCCGは、小児の血液腫瘍や固形腫瘍を含む小児がんに関する日本全国の“小児がんを診療する病院”の小児がん専門の医師や研究者が集まる全国規模の研究グループであり、国などの公的研究費の支援を受けて活動しています。JCCGの血液腫瘍分科会(JPLSG:Japanese Pediatric Leukemia/Lymphoma Study Group)は、小児がんの中でも、特にこどもの白血病やリンパ腫といった「小児血液がん」と呼ばれる病気に対するより良い治療法や診断法について研究しています。

この説明文書は、患者さん、代諾者の方に「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法が多施設共同非盲検無対照試験」(以下、本試験)への参加をお願いするにあたり、担当医師の説明を補い、患者さん、代諾者の方の理解を助けるために用意されたものです。この説明文書をよくお読みいただき、ご不明な点は担当医師にご確認頂いてよく理解していただいた上で、患者さん、代諾者の方が本試験に参加しても良いかどうかを十分に考え、自由な意思に基づいてご判断ください。わかりにくいことや不安な点がある場合は、遠慮なく担当医師にお聞きください。なお、本試験は認定臨床研究審査委員会の審査及び参加医療機関の管理者の許可を得るとともに、厚生労働大臣に実施計画を提出し受理された上で、実施しています。同意される場合には、この説明文書の最後に付いている同意書に署名し、日付を記入して担当医師に渡してください。本試験に参加されなくても、患者さんが不利益を被ることは一切ありませんのでご安心ください。

2. 病気と治療について

これまでの検査結果から、あなたのお子さんの病気は「若年性骨髄単球性白血病(JMML)」という白血病のひとつであることがわかっています。若年性骨髄単球性白血病(JMML)は血液中の白血球という細胞が無秩序に増えることで正常の血液が作られにくくなる、血液の悪性腫瘍(がん)のひとつです。主に5歳未満の年少児に認められ、日本国内における年間症例数は10～20人程度のとてもまれな白血病です。ほとんどの患者さんは乳幼児期に発症し、発熱、腹部膨満、発疹、出血症状、リンパ節腫脹、体重増加不良、白血球高値、貧血、血小板減少など、様々な症状・血液検査異常が認められます。しかし、これらはJMML以外の病気の患者さんでもしばしば認められるため、診断が大変に難しい病気です。末梢血中の単球・芽球の割合、染色体検査、HbF(ヘモグロビンF)などの検査が診断の参考になります。また、JMML細胞を「遺伝子解析」という詳しい方法で調べて、特徴的な遺伝子(PTPN11、NRAS、KRAS、NF1、CBLなどの)の変異があるかどうか確認することも診断の大きな助けとなります。コロニーアッセイ法という特殊な血液検査で、「GM-CSF高感受性」が認められることも診断の参考になります。これらの検査結果を参考にしたJMMLの診断基準に基づいて、あなたのお子さんは、JMMLと診断されました。ほとんどのJMMLの患者さんでは、抗がん剤や造血細胞移植による治療を行わなければ、臓器障害(呼吸状態や腎臓の機能が悪くなったり、出血しやすくなったりすることなど)が進行して命を落としてしまいます。一方、比較的安定した経過で自然に治ってしまう患者さんがごく一部におられることも知られていますが、基本的には全ての患者さんで、造血細胞移植が必要になると考えられています。しかしながら、JMMLの患者さんに対する造血細胞移植の成績は、未だ十分に満足できるものではありません。国内で2000年から2011年に行われた移植例の報告では、一番成績の良かったブスルファン＋フルダラビン＋メルファランという移植前処置を用いた症例でも、5年全生存率は73%にとどまっています。これまで移植前の治療として、メルカプトプリンや少量のシタラビンなどの化学療法が行われてきていますが、JMMLの移植成績を向上させるためには、さらに移植前の治療を工夫して、病気の状態をより落ち着かせてから移植につなげる必要があると考えられます。

3. 試験の目的・意義

本試験は、JMMLの患者さんに対する化学療法としてアザシチジン療法の有効性と安全性を評価することを目的として、計画されました。アザシチジン(商品名:ビダーザ)は、DNAメチル化阻害作用と殺細胞作用を併せ持つ、DNAメチルトランスフェラーゼ阻害剤という種類の抗がん剤です。骨髄異形成症候群という成人血液がんの患者さんに対する有効性が確認されており、国内外で広く使われています。また、JMMLの患者さんに対しても、このアザシチジンという薬を安全に投与することができ、病気の進行を抑えることが出来たとする海外からの報告があり、JMMLに対する治療法として、特に移植までの橋渡し治療としての効果が期待されています。しかしながら、小児患者に対する使用は保険診療として認められておらず、JMMLに対するアザシチジンによる治療を標準的な治療として確立するためには、本当にその効果が確かなものであるのか、前向きな臨床試験による評価が必要であると考えられ、本試験が計画されました。

4. 今回の試験の方法

【対象となる患者さん】

本試験に参加していただくためには、いくつかの参加基準があります。

●試験にご参加いただける主な基準

- (1) JMMLの診断基準を満たしている診断時の年齢が、10歳未満の患者さん。
- (2) 臓器機能が保たれている患者さん。
- (3) JPLSGの前方視的研究であるCHM-14の同意が得られている患者さん。
- (4) 本試験参加について本人または代諾者から文書で同意が得られている患者さん。

●試験にご参加いただけない主な基準

- (1) ヌーナン症候群の患者さん。
- (2) コントロール困難な感染症を伴う患者さん。
- (3) 造血細胞移植を過去に受けたことのある患者さん。
- (4) その他、担当医がアザシチジン治療を行うことが不適当と判断する患者さん。

【試験の参加期間】

本試験の総試験期間は11.5年(2021年4月～2032年9月予定)で、予定登録期間、追跡期間は以下の通りです。

予定登録期間:4年

追跡期間:登録期間終了後6年

【参加人数】

JMMLと診断され、上記の基準を満たす、30人の患者さんを登録する予定です。

【スケジュール】

試験期間中には以下の「試験のスケジュール表」のとおり検査・観察を行います。

	スクリーニング期間	治療期間						後観察期間					
評価日	Day -28 から +1	2サイクル開始時	3サイクル開始時	4サイクル開始時	5サイクル開始時	6サイクル開始時	最終AZA 治療開始4週間後	造血細胞移植直前	造血細胞移植1年後	登録1年後	登録3年後	登録5年後	追跡期間終了まで
許容範囲	day-28~+1	-7 days	-7 days	-7 days	-7 days	-7 days	±3 days	-4w	±4w	±4w	±12w	±12w	
同意取得	X												
骨髄・末梢血試料採取、成育へ送付	X			X			X						
骨髄・末梢血塗抹標本、名大へ送付	X			X			X						
骨髄・末梢血試料採取(遺伝学的検査)、名大へ送付	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X			

研究対象者の背景	X												
身長、体重、体表面積	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	
全身状態	X	X	X	X	X	X	X	X					
臓器腫大(肝腫大、脾腫大、リンパ節腫大)	X	X	X	X	X	X	X	X					
髄外病変の評価	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	
適格基準の確認	X												
血液学的検査	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	
骨髄穿刺	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	
骨髄染色体解析	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X			
静脈血液ガス検査	X			X			X	X					
凝固機能検査、免疫学検査	X	X	X	X	X	X	X	X					
内分泌検査	X									X	X	X	
尿検査	X			X			X	X					
血液生化学的検査	X	X	X	X	X	X	X	X					
バイタルサイン	X	X	X	X	X	X	X	X					
心電図	X			X			X	X					
心臓超音波	X			X			X	X					
腹部超音波	X	X	X	X	X	X	X	X					
胸部X線写真	X			X			X	X					
胸腹部CT、成育へ送付	X			X			X						
頭部CTあるいは頭部MRI	X												
症例登録	X												
生活の質アンケート調査												X	
試験治療		---	---	---	---	---	-->						

後治療		---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	-->
重篤な有害事象 確認		---	---	---	---	---	-->						
予後の追跡		---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	-->

【薬剤投与スケジュール】

Day	1	2	3	4	5	6	7
アザシ チジン	■	■	■	■	■	■	■

アザシチジンは75mg/m²を1日1回、10分間の点滴とし7日間投与します。年齢や採血検査結果により、投与量の調整をすることがあります。その後、21日間は治療を行わず、休薬期間とします。この4週間ごとを1サイクルとして、疾患の進行が認められないかぎり、3サイクル以上の治療を行います。試験治療は可能な限り6サイクルまでにとどめ、造血細胞移植を行うことを推奨していますが、ドナーコーディネート状況等により、必要な場合には最大12サイクルまで投与を継続する場合があります。なお、特徴的な遺伝子(CBL)の変異例は、一般に予後良好であるため、原則、同種造血細胞移植を行わず、アザシチジン投与後は無治療で経過観察を行うことを推奨しています。また、治療による副作用等を認める場合に、次コースのアザシチジン投与量を減量する場合があります。

<検査の内容と期間について>

本試験の治療を受けている間は、血液検査、骨髄穿刺、レントゲン検査などを定期的に受けていただきます。治療中は、1週間に数回採血が行われることもあります。これらの検査は、主に治療が安全に遂行できているかどうかを調べるために行います。治療が終了してからも、入院や外来で診察や検査を行います。なお、本試験に参加することで受ける検査の回数は、試験に参加せず他の治療を受けた場合と変わりません。

＜中央診断および中央検査について＞

本試験は日本全国のたくさんの病院が参加して行われます。そのため、患者さんそれぞれの診断や治療効果の判定が病院ごとにばらついてしまう可能性があります。そこで、統一した基準でJMMLの診断や治療に必要な検査を行うために、本試験では以下の中央診断および中央検査を実施します。その際に、患者さんの血液や骨髄血の試料を、中央診断施設および中央検査施設に送る必要がありますが、患者さんの個人情報が増えることはありません(詳しくは、「15. プライバシーの保護について」をご覧ください)。また、中央診断および中央検査の結果につきましてはお知らせ致しませんのでご了承下さい。

●遺伝学的検査

末梢血、骨髄血試料を本試験における中央診断施設(名古屋大学医学部 小児科 血液研究室、責任者:村松秀城)に送付させていただいて、JMMLの原因遺伝子であるPTPN11, KRAS, NRAS, CBL, NF1の変異解析、遺伝子メチル化解析などの遺伝学的検査を行います。

●形態中央診断

骨髄塗抹標本(プレパラート)または末梢血塗抹標本(プレパラート)を本試験における中央診断施設(名古屋大学医学部 小児科 血液研究室、責任者:村松秀城)に送付させていただいて、形態中央診断を行い、患者さんの病気の診断に役立てます。

●FCM-免疫検査

本試験では、骨髄・末梢血試料を中央検査施設(成育医療センター研究所 小児血液・腫瘍研究部、責任者:出口隆生)に送付させていただいて細胞表面マーカーの検査を行い、患者さんの病気の検査に役立てます。

●CT検査(脾腫評価)

本試験では、CT画像データ試料を中央検査施設(成育医療センター研究所 放射線診療部、責任者:宮崎 治)に送付させていただいてCT画像の読影を行い、患者さんの病気の検査に役立てます。

5. QOLアンケート調査の時期と方法について

患者さんご自身と保護者の方を対象に、質問紙法でのQOL(クオリティオブライフ: 患者さんの生活の質)アンケート調査が登録5年後の1回行われます。その時期の生活状況をご回答いただきます。回答時期までに、担当医師から患者さんの生活状況をお分かりの保護者に

アンケート用のURLをお伝えします。アンケートは、ご自身のスマートフォンやPC等で保護者の方とご本人にお答えいただきます。

アンケートは、無記名調査です。アンケートの回答内容は、QOL研究センター(責任者:東京大学家族看護学分野 教授 上別府圭子)に届き、病院の主治医や担当医師やその他の病院の職員などが内容を見ることはありません。また、あなたが回答されなかった場合でも治療において不利益を受けることはありません。

QOL研究センターでは、患者さんのお名前などの個人情報は一切使用せず、JPLSG登録コードやJMML-20の症例登録番号のみで管理しますので、患者さん個人が特定されることはありません。いただいたアンケート結果は、本試験終了後、適切な方法で廃棄します。また、本試験期間中にも、お申し出があれば、登録番号を照らしあわせて廃棄いたします。QOLアンケート調査への協力や、お答えいただいた内容により、患者さんや保護者に直接的な利益や不利益が起こることはありません。

6. 予測される利益と不利益

【予測される利益】

本試験に参加される患者さんは、参加されることにより、安全でより良い治療成績が得られる可能性があります。

【予測される不利益】

本試験は、国内や海外の情報を総合して綿密に計画したのですが、従来の治療法での成績を下回る可能性や、予想しているより強い毒性が生じる可能性があります。

7. これまでに分かっている主な副作用について

有害事象

試験治療を患者さんに行ったときに起こる、あらゆる好ましくない症状や病気の徴候、臨床検査値の変化を「有害事象」といい、使用した薬との関連性は問いません。そのため、「有害事象」には「使用した薬が原因である」、「使用した薬が原因と疑われる」もの以外に「使用した薬とは関連がない」ものが含まれます。

有害事象の中で「使用した薬が原因である」もしくは「使用した薬が原因と疑われる」と判断された事象を「副作用」といいます。

以下に、アザシチジンの主な副作用をお示しします。なお、詳細かつ最新の副作用情報は、以下の薬剤添付文書(http://www.info.pmda.go.jp/psearch/html/menu_tenpu_base.html)よりご確認ください。

(1) 重大な副作用

- 1) 骨髄抑制（赤血球、白血球、血小板が減少すること）
- 2) 感染症
- 3) 出血
- 4) 間質性肺疾患（咳、息切れ、呼吸困難など）
- 5) 心障害（不整脈、心不全など）
- 6) ショック、アナフィラキシー様症状
- 7) 肝機能障害、黄疸
- 8) 腎不全、腎尿細管性アシドーシス
- 9) 低血圧

(2) その他の副作用

副作用に対しては可能な限り予防処置を行い、実際に起こった場合には、速やかに適切な処置を行います。例えば、骨髄抑制にともなう白血球減少、易感染性に対しては顆粒球（白血球の一種で、細菌や真菌を殺す作用を持つ）を増やす薬（G-CSF製剤）を使用することもあります。感染症に対しては抗生物質や抗真菌剤等の治療を行います。貧血や出血傾向の治療として赤血球や血小板の輸血や血漿製剤が必要なこともあります。抗がん剤による吐き気・嘔吐には専用の制吐剤を投与し、点滴による栄養管理を行うときもあります。これらを「支持療法」といい、治療の重要な部分です。

これらの副作用の多くは、一時的なもので治療が終われば回復します。また、多くの場合は予測することが可能で、適切な対応により重症化を防ぐことができます。しかし、まれに感染症が重症化する場合や予測できない副作用が起こる可能性があり、ひどい場合には生命をおびやかすような危険な副作用が生じることもあり得ます。

8. その他の治療方法について

その他の治療方法として、化学療法は行わずに無治療で経過観察することや、アザシチジン以外の化学療法を用いて移植前の治療とする事も可能です。その場合でも最終的には多くの患者さんには、造血細胞移植を行う事が治療に欠かせません。

本試験はJCGGに所属する専門医師が集まって作成したもので、患者さんに対する治療法として現段階で一番良いものと考えています。しかし、もし患者さんや代諾者の方が本試験への参加に同意されなかった場合や、同意を撤回された場合、あるいは患者さんの病気が本試験に参加する条件を満たしていないことが、治療を開始したのちに明らかとなった場合は、その後の治療方針等についてあらためてご相談させていただきます。どのような治療法を選ぶかは、担当医師と患者さん、代諾者の方でよく相談した上で決めてください。

9. 試験への参加は患者さん、代諾者の方の自由意思を尊重します

本試験への参加に対し同意されるかどうかは、患者さん、代諾者の方の自由です。同意しない場合でも、患者さんの病気の治療を続ける上で不利な扱いを受けることは決してありません。本試験に参加することに同意した後でも、「試験への参加を取りやめたい」と思ったときには、たとえ試験期間中でもいつでも自由に同意を取りやめること（同意撤回といいます）ができます。また、試験への参加を途中で取りやめても不利な扱いを受けることは決してありません。途中で同意撤回された場合、それまでに得られた情報（試験用に採取した血液等を調べた結果や、カルテに記載された情報）は、使用させて頂けますようお願いいたします。同意を撤回された日付以降の情報（カルテの情報や検査結果）は、本試験目的に用いられることはありません。

なお、同意を取り消された時点ですでに試験結果が論文などで公表されている場合のように、解析結果を廃棄することができない場合があることをご理解ください。もちろんこのような場合でも、個人を特定できる情報が公表されることはありません。

10. 試験や試験治療の中止について

本試験の治療中に患者さんの病気の悪化（「再発」や「増悪」）が確認された場合や、重篤な副作用が発生したときなど、患者さんの試験治療を中止する場合があります。また、本試験治療の安全性に問題があることが判明した場合、試験全体が中止になることがあります。

試験治療が中止になった場合、その後どのような治療を受けていただくかは、担当医師が患者さんや代諾者の方とよく相談した上で決めていきます。

試験参加の同意をいただいた後でも、次のような場合には、試験へ参加いただけなかったり、中止することがありますので、ご了承ください。

- ・患者さん、代諾者の方から試験治療中止のお申し出があった場合
- ・途中で、副作用など身体の状態やその他の理由により治療をやめた方がよいと担当医師が判断した場合
- ・試験治療の安全性に問題がある事が発生した場合

なお、本試験治療が中止になった後も、あらかじめ決められた期間までは定期的に診察や検査を受けていただきますが、この診察や検査の回数や期間も、試験治療に参加せずに他の治療を受けた場合と大きく変わりません。

11. 試験参加中の費用について

本試験に参加されたからといって特別に費用負担が増えることはありません。ただし、患者さんの希望による個室使用などの保険適応外の費用は、別途、負担して頂きます。また、造血細胞移植に関わる費用などは一部個人負担となる可能性がありますので、担当医師にご確認ください。いずれも通常診療であっても自己負担となるものですので、本試験に参加されたからといって特別に費用負担が増えることはありません。

12. 健康被害が発生した場合の治療と補償・賠償について

本試験は、これまでの報告に基づいて科学的に計画され、慎重に行われます。出現する副作用は患者さんによってさまざまですが、未知の副作用が発生することも有り得ます。もし本試験期間中あるいは終了後に患者さんに副作用などの健康被害が生じた場合には、通常の診療と同様に医師が適切な診察と治療を行います。その際の治療は患者さんの加入している健康保険を使って行われるものであり、本試験に参加することで生じた健康被害に対する金銭面での補償はありません。

13. 本試験に関する新たな情報が得られた場合

本試験に参加されている間に、患者さん、代諾者の方の試験参加の意思に影響を及ぼすような、新たな情報(例えば、新しい副作用などに関する情報)を入手した場合には、この説明

文書を改訂し、その内容をお知らせ致しますので、引き続き、本試験に参加されるか、あるいは中止されるか、ご自由な意思に基づいてお決めください。試験参加を継続される場合は、改訂版の同意説明文書に、再度ご署名をいただきます。

14. 試料・情報の保存・保管と二次利用について

本試験ではカルテに記載された診療情報の収集に電子的にデータを取得する方法(Electronic Data Capture 以下、EDC)を使用します。各医療機関の研究責任医師から指名された者が、厳重に管理された個人のIDとパスワードを用いてEDCより、患者さんの診療情報を入力・報告します。この時、研究責任医師は、全ての入力・報告された情報が正確であることに責任を持つこととなっています。また報告された情報も情報漏えいに注意して、適切に管理されます。

情報は、試験終了時にデータセンターより研究代表医師に提出され、当該試験の終了について報告された日から5年を経過した日以降廃棄するまで適切に保管します。参加医療機関側における本試験に係る文書、原資料も、本試験終了日から5年以上保管します。記録を破棄する場合には患者さんのプライバシー保護に配慮致します。

本試験において取得された試料(病理標本・検体など)は、「臨床研究法施行規則 (平成30年厚生労働省令第17号)第53条」に従って保管させていただきます。廃棄する場合は、プライバシーに配慮して適切に廃棄いたします。

本試験で得られた試料・情報は、本試験の目的以外に使用させていただくことがあります。これを二次利用といいます。新たに試料・情報を利用する研究計画を作成し、研究の適切性や患者さんへの倫理性について、JCOGの運営委員会及び新たな研究計画の内容に応じた適切な倫理審査委員会にて承認を得ることと致します。

データセンターに提出されましたお子さまの情報や検体保存センターに保管されております余剰検体は、この治療法が長期的にも安全で有効であるかを確認したり、当該疾患や試験治療に関連する補助的な診断・検査に利用するなど、本試験の目的の範囲内で使用させて頂くために、本試験終了後5年よりも可能な限り長期間保管・管理させて頂きたいと考えております。

又、本試験の実施中または試験終了後に、JPLSGが認めた場合に限り、本試験のために集めた試料(情報や余剰検体)を本試験の目的とは別の研究に利用させていただくことがあります。現時点では、まだ計画・想定されていないものの、将来非常に重要な検討が必要となるような場合です。例えば、本試験と同じ疾患の患者さんを対象とする別の臨床試験や、本試験と同じ薬剤または類似の治療法を検討する臨床試験データと併合して解析することや、より厳密なレベルでの検査・診断技術の検討を行うようなことが考えられます。こうした二次利用を行う場合にも、検討結果の公表に際して、あなたのお名前や個人を特定できるような情報が使われることはありません。さらに、このような目的での検討を行う際に、本試験のために収集した情報だけでは不十分である場合、担当医を通じて、患者さんの診療録などを確認し、必要な情報を集めるなど追加の調査を行わせていただくことがあります。患者さんから改めて試料を採取するなどご負担をおかけすることはございませんのでご安心下さい。このように本試験に参加される際に説明させて頂きました個人情報、利用する目的・項目の範囲を超えて利用させていただく場合は、JPLSGのホームページ(<http://www.jplsg.jp/>)にてどのようなお子さまの情報をどのような研究目的で利用するかという研究概要を公開させて頂きます。ご自分の情報を他の研究に使ってほしくないなどのご希望があれば、担当医とご相談くださいますよう、お願いいたします。ホームページにアクセスできないなどご心配な点は担当医師にご相談ください。

なお、同意撤回された場合は、それまでに得られた診療記録などの情報は使用させていただきますようお願いいたします。提供していただいた試料は、個人名が特定できないようにした上で廃棄され、診療記録などもそれ以降は、研究目的に用いられることはありません。なお、同意撤回された時点ですでに研究結果が論文などで公表されている場合のように、解析結果から患者さんのデータを削除できない場合があることをご理解ください。もちろんこのような場合でも、個人を特定できる情報が公表されることはありません。

15. 偶発的に遺伝的特徴が発見された場合について

生まれつき持っている遺伝子変異が判明したり、偶発的に遺伝的特徴等が発見される場合に結果開示希望の有無を確認することがあります。開示を希望する場合は遺伝カウンセリング外来受診をお勧めします。再検査や遺伝カウンセリング体制は整えられていますので担当医師または研究責任医師にご相談下さい。重要な知見が得られたときには、有効な対処方法が

あり、患者さんやその血縁者がその結果を知ることが有益であると判断される場合は、所定の手続きの上、結果開示の意向を再度確認する場合があります。

16. プライバシーの保護について

患者さんから得られた試料や情報は、患者さんを特定されないよう配慮するため、試験用に付けられた番号を用いて管理されます。本試験で得られた医学的情報は、医学雑誌などに公表されることがありますが、患者さんのお名前など個人を特定できるような情報は一切わからないように配慮いたします。本試験では、患者さんの二重登録を管理するため、イニシャル、生年月日、診療IDなどの情報を利用させていただきますが、登録された後は、登録時に発番された症例登録番号を用いて医療情報を管理致します。

なお、本試験の同意書に署名されることで、診療情報(治療内容など)を入手させていただくこと、試験の関係者、認定臨床研究審査委員会、厚生労働省等がカルテや検査結果や臨床研究に係る資料を見たりすること、他院や他科にかかれた場合に試験に参加していることをお知らせすることを認めていただいたことになりますので、ご承知ください。

17. 試験に関する情報公開について

本試験は、公開データベースである臨床研究実施計画・研究概要公開システム(jRCT)<http://jrct.niph.go.jp/>に登録し、研究計画書の変更及び試験の進み具合、終了など時期に応じて登録内容を更新いたします。より詳細な試験の計画、方法についてお知りになりたいときには、研究責任医師までご連絡ください。本試験に参加している他の方の個人情報や、研究の知的財産等に支障がない範囲で研究計画書の閲覧や説明をいたします。

18. 知的財産権について

本試験の結果が特許権等の知的財産を生み出す可能性があります、その場合の知的財産権はJCCGに帰属します。

19. 試験の資金源および利益相反について

利益相反(起こりうる利害の衝突)とは研究成果の公正性、適切性に影響を及ぼし得る可能性のある利害関係を指し、金銭及び人的、物理的關係を含みます。

本試験は国からの公的資金以外に企業からの資金を受けていません。したがって、本試験に関して製薬企業等との間に開示すべき利益相反はありません。ここで用いている「利益相反」とは、研究グループが、公的資金以外に製薬企業などからの資金提供を受けている場合に、臨床試験が企業の利益の為に行われているのではないかと、臨床試験の結果の公表が公正に行われぬのではないかと(企業に有利な結果しか公表されないのではないかと)などといった疑問が生じることを指し、患者さんの利益と研究グループや製薬企業などの利益が相反している状態のことを表しています。

本試験に関連する製薬企業等については、「16. 試験に関する情報公開について」に記載しているJRCTサイトの本試験の実施計画にて公開します。また、本試験に従事する者の利益相反に関しては、臨床研究法により定められた方法に基づいて、認定臨床研究審査委員会に報告され、適切に管理されます。

本試験に従事する者のうち、個人的な利益相反関係を有する医師が一部存在しますが、臨床研究法により定められた方法に基づいて、認定臨床研究審査委員会に報告され、適切に管理されます。

なお、製薬企業等の利益を優先させて、あなたの治療方針を変えてしまったり、試験の公正さを損なうことはありません。

20.患者さん、代諾者の方に守っていただきたいこと

本試験に参加されている間は、次のことを守ってください。

- ・いつもと体調が違うときはすぐに担当医師にご連絡ください。適切に対応いたします。
- ・他の薬や健康食品を使用される場合は必ず事前にご相談ください。他に服用されている薬がある場合も同様です。本試験で使用する薬と併用することにより、危険な副作用が生じる場合があります。
- ・転居される場合はお申し出ください。転居先に本試験に参加している病院があれば、担当医師からご紹介いたします。
- ・本試験参加期間中に、他科又は他院を受診される可能性があります。受診中の他科又は他院の担当医師より患者さんの情報を頂き、本治療法の有効性、安全性の情報として評価に利用させていただく可能性がありますので、他科又は他院を受診される/された場合は担当医師にご連絡ください。

21. お問い合わせ先について

本試験に関して、わからないことや、聞きたいこと、また何か心配なことがありましたら、いつでも遠慮なく担当医師または研究責任医師、研究代表医師におたずねください。また、病気やけがなどで他の治療を受けるときにも、下記までご連絡ください。

【実施医療機関の研究責任医師の連絡先】

病院名：

〒589-8511 住所：大阪狭山市大野東377-2

TEL：072-366-0221(病院代表)

研究責任医師 小児科 職名 准教授

氏名：坂田 尚己

担当医師：_____科

氏名：

【研究代表医師（本試験全体の責任者）の連絡先】

病院名：名古屋大学医学部附属病院

〒466-8560 住所：名古屋市昭和区鶴舞町65番地

TEL：052-741-2111(病院代表)

研究代表医師：小児科 職名 講師

氏名：村松秀城

【認定臨床研究審査委員会の連絡先】

名称：独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター臨床研究審査委員会

所在地：〒460-0001 名古屋市中区三の丸4丁目1番1号

連絡先: 臨床研究審査委員会事務局

TEL: 052-951-1111

E-mail: 311-nmc-rec@mail.hosp.go.jp

本試験に参加している施設(病院)は、JPLSGホームページ<<http://jplsg.jp/>>に掲載しておりますのでご利用ください。

JPLSGホームページ>臨床研究について>実施中の臨床研究と参加施設情報>JMML-20>参加施設一覧

これまでの説明の中で、分からないこと、さらに詳しく説明してほしいことがありましたら、どんな些細なことでも質問してください。そして、本試験の内容をよく理解していただき、十分に検討してから参加を決めてください。参加していただけるようでしたら、同意書にご署名ください。この説明文書と同意書は大切に保管してください。

「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の 多施設共同非盲検無対照試験」に関する同意書

医療施設名 : _____ 病院

病院長名 : _____ 殿

私(たち)は、JCCG血液腫瘍分科会(JPLSG)「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の多施設共同非盲検無対照試験」について下記の事項について十分な説明を受け、質問をする機会を得ました。(説明を受け、理解した項目について、□にチェックをしてください)

- ☐ 1. はじめに
- ☐ 2. 病気と治療について
- ☐ 3. 試験の目的・意義
- ☐ 4. 今回の試験の方法
- ☐ 5. QOLアンケート調査の時期と方法について
- ☐ 6. 予測される利益と不利益
- ☐ 7. これまでに分かっている主な副作用について
- ☐ 8. その他の治療法について
- ☐ 9. 試験への参加は患者さん、代諾者の方の自由意思を尊重します
- ☐ 10. 試験や試験治療の中止について
- ☐ 11. 試験参加中の費用について
- ☐ 12. 健康被害が発生した場合の治療と補償・賠償について
- ☐ 13. 本試験に関する新たな情報が得られた場合
- ☐ 14. 試料・情報の保存・保管と二次利用について
- ☐ 15. 偶発的に遺伝的特徴が発見された場合について
- ☐ 16. プライバシーの保護について
- ☐ 17. 試験に関する情報公開について
- ☐ 18. 知的財産権について
- ☐ 19. 試験の資金源および利益相反について
- ☐ 20. 患者さん、代諾者の方に守っていただきたいこと
- ☐ 21. お問い合わせ先について

ヒトゲノム・遺伝子解析研究に参加について

☐ 同意する

☐ 同意しない

遺伝子異常やエピゲノム異常を解析する研究が所定の手続き後に行われた場合に、生まれつき持っている遺伝子変異が判明したり、偶発的に遺伝的特徴等が発見されることがあります。そのような場合に解析結果の開示を希望しますか？

☐ はい

☐ いいえ

(はいの場合)

遺伝子変異解析の結果をあなたの代わりにお伝えして良いご家族又は代理人がおられましたらご記載ください。

氏名(自署)：

連絡先(住所)：_____

連絡先(電話番号)：_____

上記の項目に関する説明を十分理解した上で「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の大施設共同非盲検無対照試験」に参加します。

同意日： 西暦20____年____月____日

患者氏名：_____ (年齢)____歳

☐ 自署

代諾者署名：_____ (続柄)_____

説明日： 西暦20____年____月____日

説明医師氏名(自署)：_____ (所属・職名)

同意確認日： 西暦20____年____月____日

担当医師名(自署)：

「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の多施設共同非盲検無対照試験」臨床試験参加に関する同意撤回書

医療施設名： _____ 病院

病院長名： _____ 殿

私(たち)は「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の多施設共同非盲検無対照試験」に関して、その同意を撤回します。

同意撤回日： 西暦 20 ____ 年 ____ 月 ____ 日

患者氏名： _____ ☐ 自署

代諾者署名： _____ (続柄 _____)

私は、上記の患者さん または/ならびに 代諾者の方が「若年性骨髄単球性白血病に対するアザシチジン療法の多施設共同非盲検無対照試験(JMML-20)」に関して、同意を撤回されたことを確認致しました。

確認日： 西暦 20 ____ 年 ____ 月 ____ 日

担当医師名(自署)：