

治験のご紹介

治験参加希望者様の
主治医 御侍史

ノバルティスファーマ株式会社
治験実施責任者

拝啓 時下ますますご清祥のこととお慶び申し上げます。

突然のご案内にて誠に恐れ入ります。この度、先生がご診療されております患者様が「特定非営利活動法人 血液情報広場・つばさのWEBサイト及びNewsletter」に掲載された本治験の被験者募集広告をご覧になり、本治験への参加の可否について先生へのご相談を希望されましたため、本状を準備致しました。

本状をご覧いただき、患者様の本治験への参加可否についてご検討いただきますようお願い申し上げます。

患者様が参加を希望されている治験は、

「血小板輸血依存の低リスク骨髄異形成症候群（MDS）成人患者を対象として、治験薬（トロンボポエチン受容体作動薬）単剤療法とプラセボを比較するランダム化、二重盲検、プラセボ対照、国内第Ⅱ相臨床試験（企業治験）」です。

本治験の概要や主な選択・除外基準等を別添1にお示ししておりますので、ご参照いただき、患者様が本治験へ参加することに差し支えなく、かつ患者様が本治験参加を希望されている場合は、別添2にお示しする治験実施医療機関へご紹介いただきたく存じます。なお、治験依頼者（ノバルティスファーマ株式会社）に対するお問い合わせ先につきましては、別添3をご確認ください。

ご多用の折、大変恐縮ではございますが、何卒ご検討のほどお願い申し上げます。

敬具

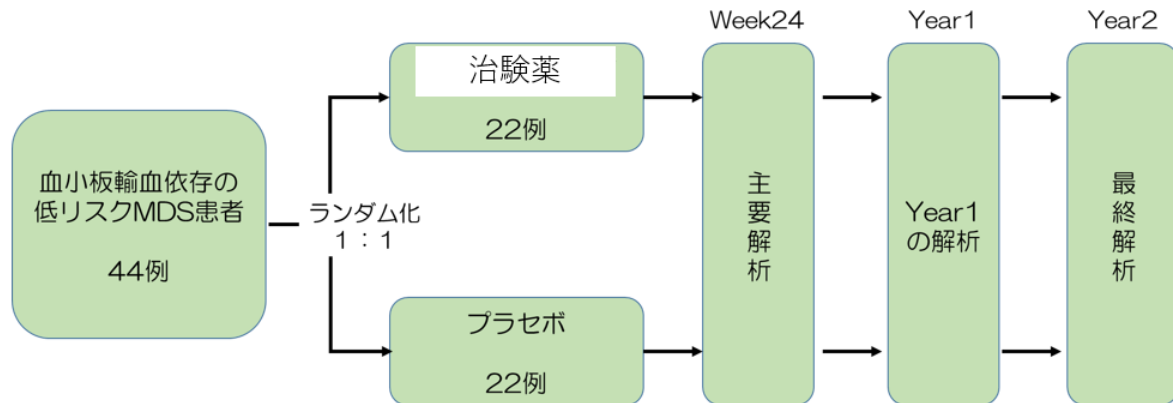
<試験概要>

【治験課題名】

血小板輸血依存の低リスク骨髄異形成症候群（MDS）成人患者を対象として、治験薬（トロンボポエチン受容体作動薬）単剤療法とプラセボを比較するランダム化、二重盲検、プラセボ対照、国内第II相臨床試験

【治験デザイン】

ランダム化、二重盲検、プラセボ対象



【本試験の目的】

血小板輸血依存の低リスクMDS患者を対象として、治験薬（トロンボポエチン受容体作動薬）単剤療法の有効性及び安全性を評価する。

主要目的：投与開始から24週後の時点での血小板輸血非依存の達成割合を評価する。

【対象疾患】

低リスクMDS

【治験製品の投与、来院スケジュール】

投与経路：経口（錠剤を1回/日服用）

主な来院スケジュール：①同意取得、②スクリーニング期、

③治療期：投与日～約14週後まで週1回、16週目以降は4週間に1回、52週目以降は8週間に1回。④投与終了後フォロー期間：1~3ヶ月に1回

※来院頻度及び治験の終了時期は患者様の状況によって変動する可能性があります。

【被験者募集期間】

2022年10月まで

※進捗状況によって変更となる可能性があります。

【本治験に参加するための基準】

次ページの基準をすべて満たした方は本治験に参加出来る可能性がありますが、基準はこれら以外にもありますので、実際に本治験に参加できるかどうかは、治験実施医療機関での詳細な検査結果等を確認した後に判断されます。

【主な適格基準】

1. 20歳以上の日本人成人患者
2. WHO分類改訂第4版（International Agency for Research on Cancer 2017）のMDSと診断された患者で、International Prognostic Scoring System（IPSS-R）に基づく以下の予後リスクカテゴリーのいずれかに分類されている：
 - very lowリスク（0～1.5）
 - lowリスク（2～3）
 - intermediateリスク（3.5～4.5）
3. IPSS-Rに基づく予後変数に関して以下の基準をすべて満たしていなければならない。
 - 骨髄中の芽球割合5%未満
 - IPSS-Rに対応する細胞遺伝学的リスクがvery good、good又はintermediate
4. 血小板輸血依存の患者（定義：ランダム化前の4週間に2回以上の頻度で定期的に血小板輸血を受けている場合。血小板数が $20 \times 10^9/L$ 未満、又は出血症状がみられる患者には、血小板数 $30 \times 10^9/L$ 未満で血小板輸血を実施すること）。MDSが直接の原因ではない理由（例：出血、外科的手技、溶血、感染）により一時的に血小板輸血の基準を満たしても、血小板輸血依存とはみなさない。
5. 実施施設の標準的な診療に従ったMDS治療（ESA、G-CSF等の支持療法を除く）で難治性、不耐容、又は非適応となった患者

【主な除外基準】

1. 治験薬、ロミプロスチム、又は他のTPO-RA（トロンボポエチン受容体作動薬）の投与歴がある患者。
2. WHO分類改訂第4版（International Agency for Research on Cancer 2017）による治療関連MDSの患者。
3. WHO分類改訂第4版（International Agency for Research on Cancer 2017）によるMDS／骨髄増殖性腫瘍（慢性骨髄単球性白血病を含む）の患者。
4. WHO分類改訂第4版（International Agency for Research on Cancer 2017）による芽球増加（excess blasts：EB）を伴うMDSの患者。
5. IPSS-Rでhigh又はvery highのMDSの既往がある患者。
6. MDSの治療〔例：HMA、シクロスポリンA（CsA）又はレナリドミド〕を受けている患者。貧血がみられる患者での赤血球造血刺激因子製剤（ESA）及び重度の好中球減少症及び反復性の感染症がみられる患者での顆粒球コロニー刺激因子（G-CSF）による支持療法は、スクリーニング前3ヵ月間にわたり用量が安定しており、かつ治験薬（トロンボポエチン受容体作動薬）の最適な用量が確立されるまで同じ用法・用量で継続する場合、許容される。
7. 造血幹細胞移植の予定がある患者。
8. 十分な骨髄穿刺液を採取できないほどの骨髄の線維化が認められる患者。
9. 血栓形成の危険因子を有する患者〔本治験への参加の潜在的有用性が血栓塞栓症（TEE）の潜在的リスクを上回ると医師が判断する場合を除く〕。

＜本治験を実施中の病院（紹介先）一覧＞

本治験に参加するための基準を満たし、本治験への参加を希望される患者様がいらっしゃいましたら、お手数ではございますが、必ず参加希望患者様の主治医の先生から以下のいずれかの治験実施医療機関へご連絡いただきますようお願い申し上げます。（治験参加後は定期的な通院が必要となりますので、その点もご考慮のうえ、紹介先の病院をご検討ください。）

なお、診療情報提供書のひな型（別添4）を巻末に添付しておりますが、これらの内容をご記載いただければ形式は問いません。

病院名称 順不同	連絡先窓口 (敬称略)	連絡先 電話番号又はメールアドレス	備考
青森県立中央病院	治験管理室	017-726-8394 aokenchu_chiken@med.pref.aomori.jp	受付時間： 9:00-16:00 (平日)
東北大学病院	血液内科外来	022-717-7730	受付時間： 8:30-17:15 (平日)
山形大学医学部 附属病院	臨床研究管理センター ETB115L11201 試験 担当 CRC 鈴木 愛実	臨床研究管理センター Tel: 023-628-5840	受付時間： 8:30-17:00 (平日)
福島県立医科大学 附属病院	臨床研究センター	024-547-1771	受付時間： 9:00-17:00 (平日)
水戸協同病院	血液内科 萩原 将太郎	029-231-2371(代表)	—
石川県立中央病院	血液内科 山口 正木	076-237-8211 (代表)	—
NHO まつもと医療センター	治験管理室	0263-58-4567 kamijo.kenji.vk@mail.hosp.go.jp	受付時間： 9:00-17:00 (平日)
日本医科大学付属病院	臨床研究・治験推進部門	03-3822-2131 (代表) 内線 6239	—
千葉市立青葉病院	事務局総務班 治験担当	043-227-1131 (内線：3124)	—
横浜市立市民病院	血液内科 仲里 朝周	045-316-4580 (代表) n-tomo@eurus.dti.ne.jp	受付時間： 9:00-17:00 (平日)
東海大学医学部 附属病院	血液腫瘍内科 小川 吉明	0463-93-1121	不在時は伝言を 残して下さい。
岐阜市民病院	治験・臨床研究管理センター	058-251-1101 (代表)	受付時間： 9:00-15:00 (平日)

別添 2

浜松医療センター	血液内科 内藤 健助	053-453-7111	受付時間： 9:00-17:00 (平日)
大阪市立総合 医療センター	治験管理室	06-6929-1221 (代表)	—
広島西医療センター	治験管理室	0827-57-0461	—
下関医療センター	治験支援センター	083-231-5811 (代表電話)	—
聖マリア病院	CRC 貞富 葉子 様	090-6170-1684 (CRC 直通)	—
熊本医療センター	治験センター	096-353-6501 (代表)	受付時間： 9:00-16:30 (平日)
長崎大学病院	血液内科 安東 恒史	095-819-7111 k-ando@nagasaki-u.ac.jp	受付時間： 9:00-17:00 (平日)

＜ノバルティスファーマ株式会社 問い合わせ先＞

本治験に関する治験依頼者へのお問い合わせにつきましては、下記の窓口へお願いいたします。また、お問い合わせは必ず参加希望患者様の[主治医の先生から](#)ご連絡いただきますようお願い申し上げます。

問い合わせ窓口：ノバルティス ダイレクト

電話番号：0120-003-293 (通話料無料)

受付時間：月～金 9:00～17:30 (祝日及び弊社休日を除く)

※音声ガイダンスに従い、「1：医療関係者」→「2：オンコロジー領域の製品」を選択ください。窓口担当者がお問い合わせ内容をお伺いし、試験担当者より折り返し回答させていただきます。

診療情報提供書

MDSに関する経過・治療歴

現在処方中の薬剤と目的

既往歴・合併症（※臨床上特に重要と思われるもの）

備考

日付： 20 年 月 日
病院名：
科名：
氏名：
電話番号：