RWE CIBMTR□□B□□□□□□□□□□□□

# □□□□ B□□□□□□□□□□□□(B-ALL□

## RWE CIBMTR□□□□□ALL□

**□□/□□□□□/□□ALL□□□NHL**[*1]□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

□1 □□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□2 □□□□□□□□2020□1□□□□□□□□13.4□□

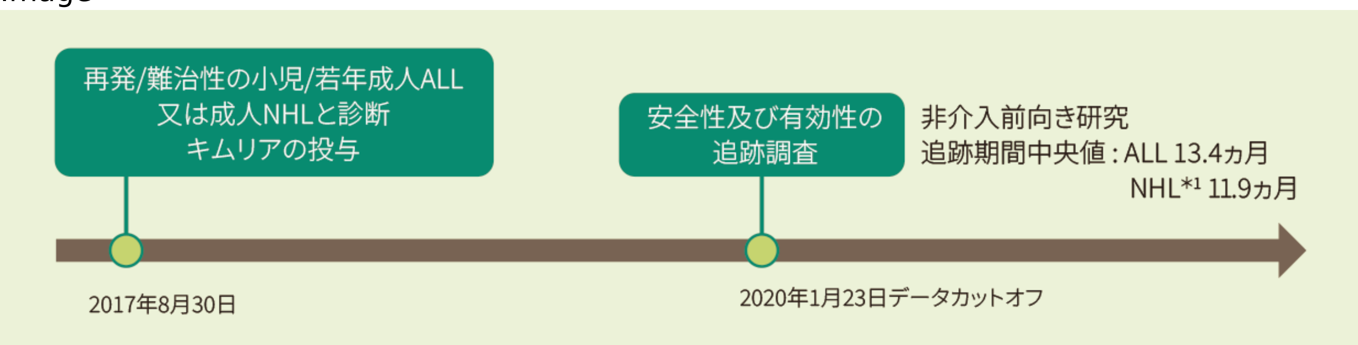
Limitation
□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□□□□□□□□□□□□□□□□□□B□□□□□□□□□CD19□□□□□□□□□□□□□

Pasquini, MC. et al.□Blood Adv. 4(21), 5414, 2020 COI□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

## □□□□2

- □□□□□□

Image



再発/難治性の小児/若年成人ALL
又は成人NHLと診断
キムリアの投与
安全性及び有効性の
追跡調査
非介入前向き研究
追跡期間中央値：ALL 13.4ヵ月
NHL*1 11.9ヵ月
2017年8月30日
2020年1月23日データカットオフ

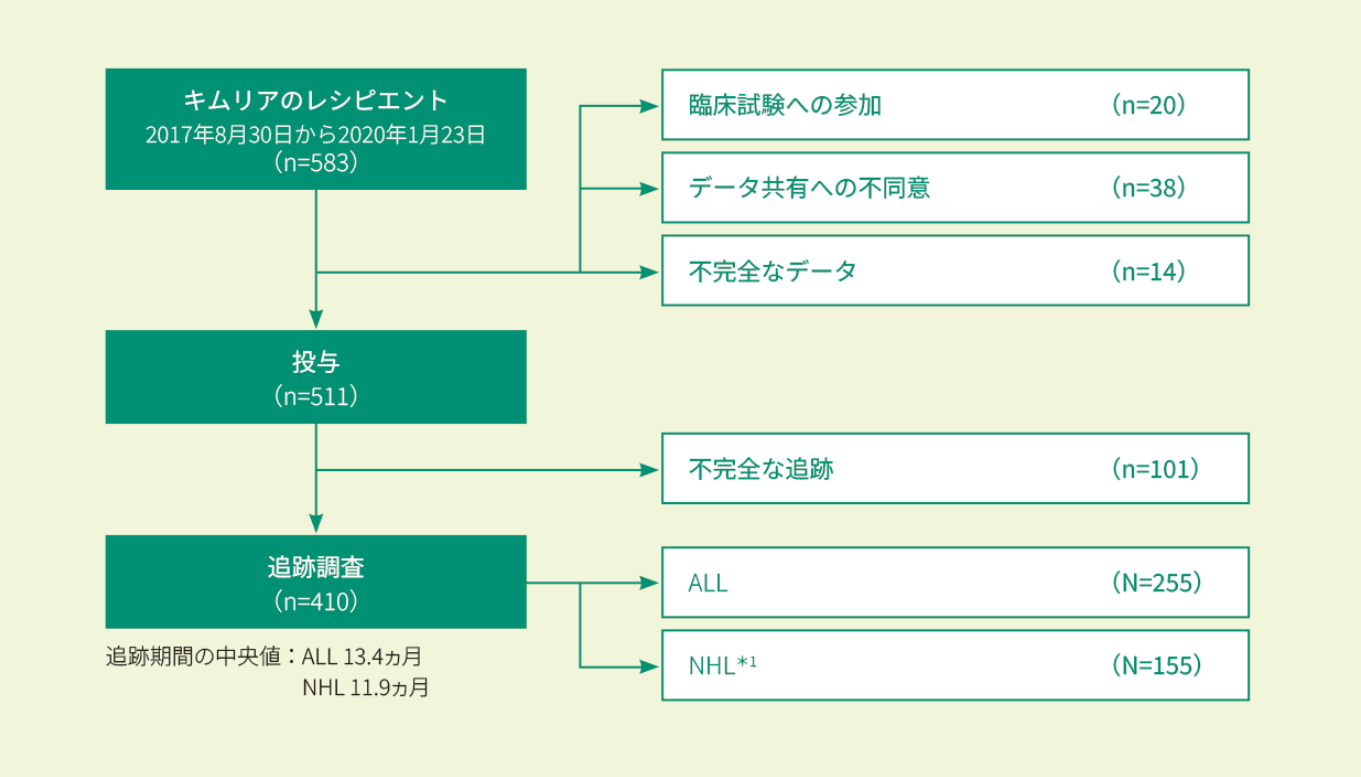

□□ □□□□□□□□□□□□□□□□410□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

| | |
|---|---|
| □□ | □□□□□□□□2017□8□30□□□□□□□□□□□□□□/□□□□□□/□□□□ALL□□□□NHL[*1]□□□□□□□□□□□□□□□□□□511□□□□□ALL□□255□ |
| □□□□□□□ | CAR□□□T□□□□□0.2×$10^6$ □5.0×$10^6$□/□□kg□□□≦50kg □□□0.1×$10^8$□2.5×$10^8$□□□□□50kg□□□□□□□□□□□□ |
| □□□□□□□□ | □□□□<br>□□□□ORR□DOR□EFS□PFS□OS□□□□□□□□□□□□□□□□□□401□□□□<br>□□□□CRS□ICANS□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□<br>CIBMTR□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□/BeMatch□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□T□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□130□□□□□□□□□□□□□□□□□2020□1□□□□73□□□511□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□CT□□□3□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□410□□□□□□□□□□□□□70□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□ORR □BOR□□□CR□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□Clopper-Pearson□□□□□CI□□□□□□□□□□<br>DOR□PFS□EFS□OS□Kaplan-Meier□□□□□□□□6□□□12□□□□95%CI□EFS□□□□□□ALL□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□-□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□100□□□□□□□□□□□□□□□CRS□□ICANS□□□BOR□□□□□□□□□□ALL□□□50kg□□□□50kg□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□95%CI□□□□□□□□□□□□□□□□□□10%□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□80%□□□□80%□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□<br>□□□□□□□SAS□□□□□□□□□□□□□□□□□□□ |

## □□□□□□□□□□2

- □□□□

Image


キムリアのレシピエント
2017年8月30日から2020年1月23日
(n=583)
臨床試験への参加 (n=20)
データ共有への不同意 (n=38)
不完全なデータ (n=14)
投与
(n=511)
不完全な追跡 (n=101)
追跡調査
(n=410)
追跡期間の中央値：ALL 13.4ヵ月
NHL 11.9ヵ月
ALL (N=255)
NHL*1 (N=155)

- □□□□

Image

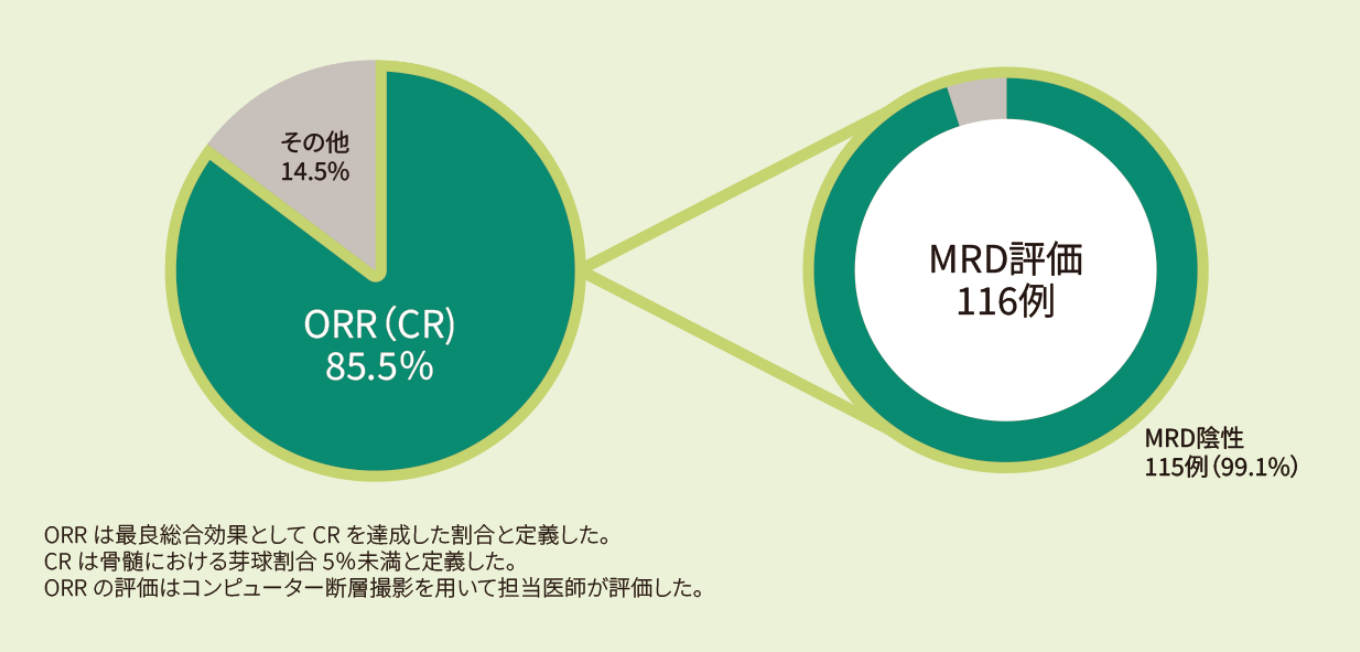
| | | N=255 |
|---|---|---|
| 年齢、中央値（範囲）、歳 | | 13.2（0.41-26.17） |
| 3歳未満、n（%） | | 15（5.9） |
| 性別（男性/女性）、n（%） | | 150（58.8）/105（41.2） |
| 前治療数、中央値（範囲） | | 3（0-15） |
| ブリナツモマブ投与歴あり、n（%） | | 38（14.9） |
| イノツズマブ投与歴あり、n（%） | | 27（10.6） |
| 投与時（又は臨床試験の登録時）の病状 | 難治性又は再発性、n（%） | 159（62.3） |
| | CR、n（%） | 95（37.2） |
| | 不明、n（%） | 1（0.5） |
| MRD陰性、n（%） | | 44（17.3） |
| HSCTの前治療歴 | 同種HSCTの前治療歴あり、n（%） | 71（27.8） |
| | 自家HSCTの前治療歴あり、n（%） | 1（0.4） |
| | 同種、自家HSCT両方の前治療歴あり、n（%） | 1（0.4） |
| CNS浸潤あり、n（%） | | 24（9.4） |
| ダウン症候群あり、n（%） | | 12（4.7） |
| 投与前のKarnofsky/Lansky PS | 90-100、n（%） | 174（68.2） |
| | 80、n（%） | 37（14.5） |
| | ＜80、n（%） | 31（12.2） |
| | 報告なし、n（%） | 13（5.1） |
| 投与前の骨髄中の形態学的な芽球細胞割合、中央値（範囲）、% | | 2（0-100） |
| アフェレーシス産物受領から投与までの期間、中央値（範囲）、日 | | 33（21-91） |
| 追跡期間、中央値（範囲）、月 | | 13.4（3.5-27.9） |

**□□□□2**

□□□□□□□□□**ORR**□**CR**□□**213**□□**85.5**□□□□□□□□**115**□□**MRD**□□□□□□□□□□□□□□□□□

- □□□□**ORR**

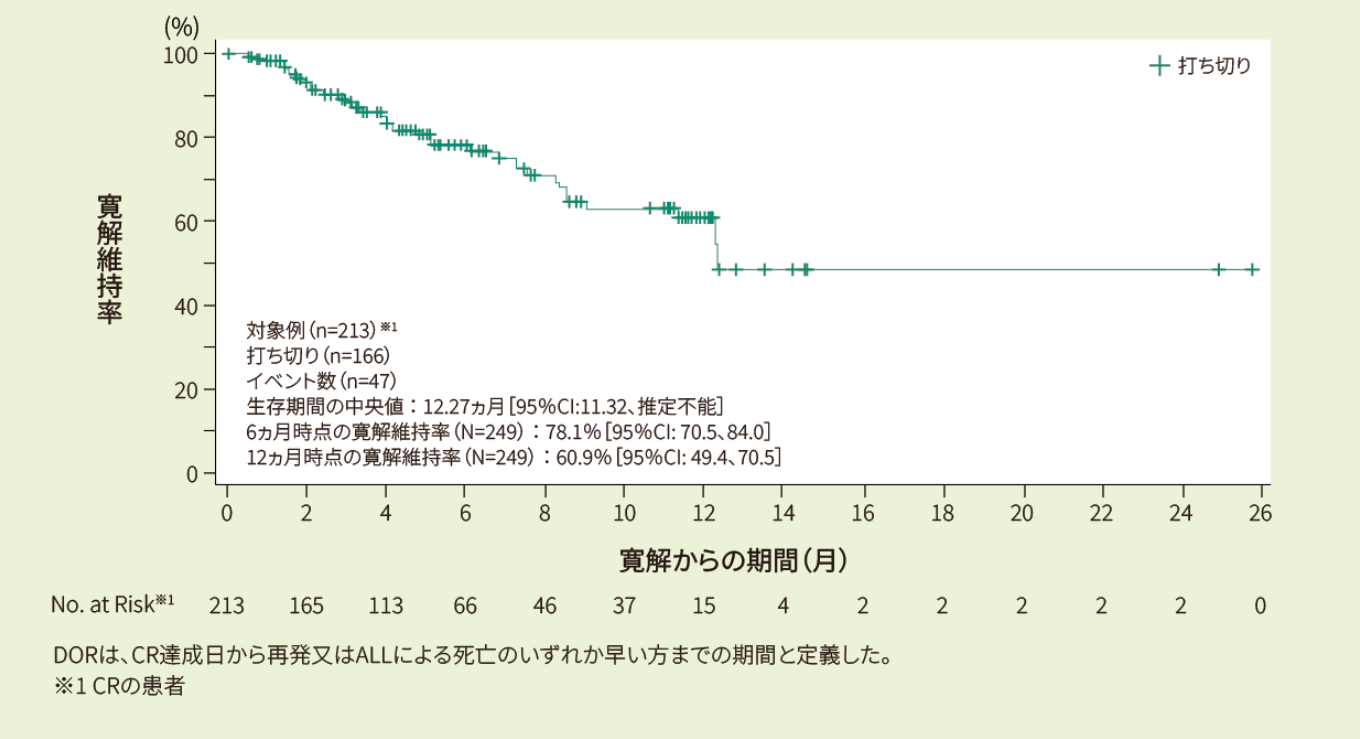
Image




**□□□□□□12□□□□□60.9□□□□**

- **ALL□□□□□□□Kaplan-Meier□□□□□□□□□□□□□□**

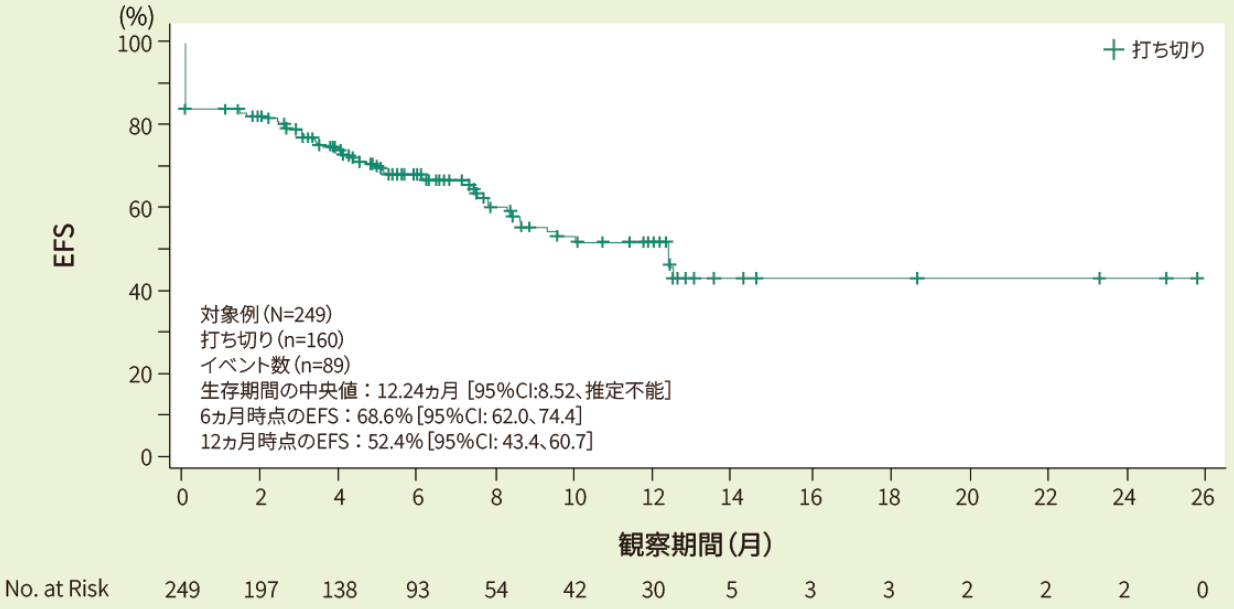
Image




**□□□□□□□□EFS□12□□□□□52.4□□□□**

- **ALL□□□□□□□Kaplan-Meier□□□□□□□EFS□□□**

Image

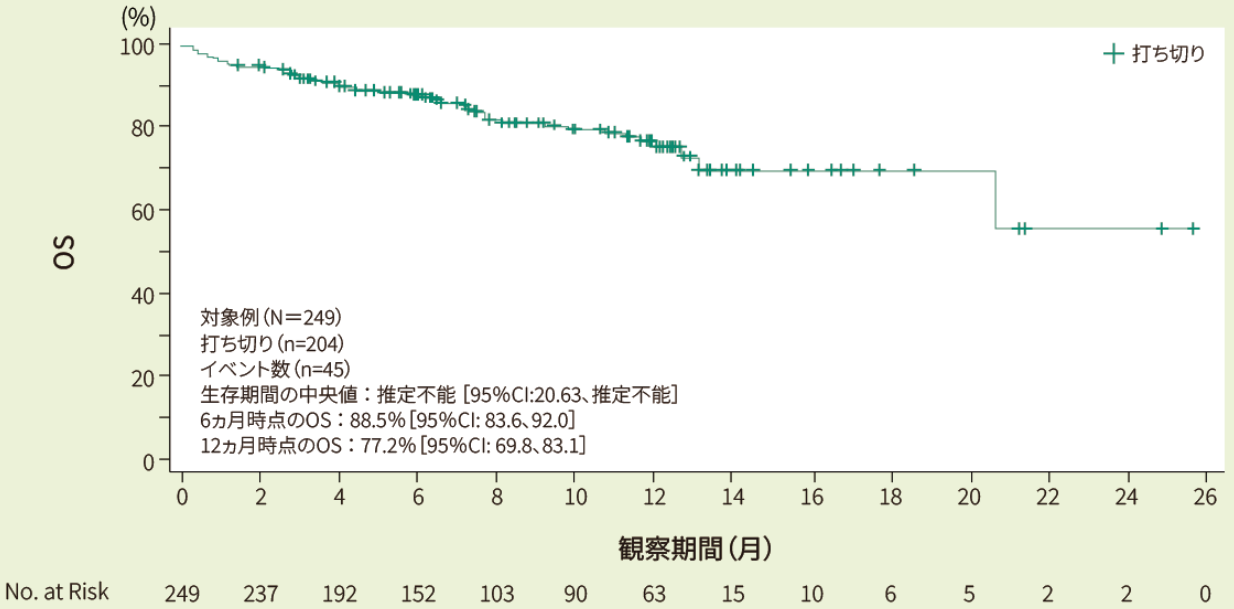



EFSはキムリアの投与日から死亡（原因問わず）、再発、又は治療不成功（未寛解、寛解前の死亡も含む）のうちいずれか早い方までの期間とした。
治療不成功とは、無効、又は死亡、有害事象、進行、新たな抗腫瘍療法の開始による試験の中止と定義した。

**OS□12□□□□□77.2□□□□□□□34□ (16.1□) □□□□□□□□□□□□□HSCT□□□□□□□**

- **ALL□□□□□□Kaplan-Meier□□□□□□OS□□□**

Image




OSは、キムリアの投与日から死亡（死因は問わない）までの期間と定義した。

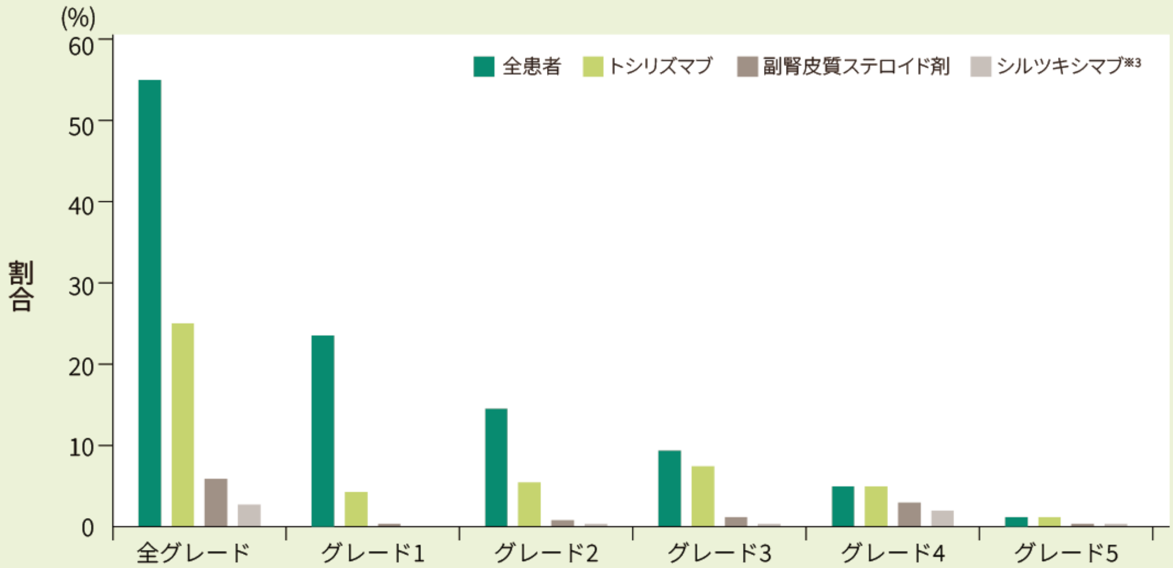
## □□□□2

CRS[※2]□140□□54.9□□□□□□□□□□□□□□□□3□□□CRS□41□□16.1□□□□□□□□□□1□□CRS□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□6□□□□□1-27□□□□□□□□□□□□7□□□□□1-76□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□25□□□□□

※2 CRS□□□□□ASTCT□□□□□□□

- □□□□□□□□□**ALL**□□□□□□□**CRS**□□□□□□□□□□□□

Image



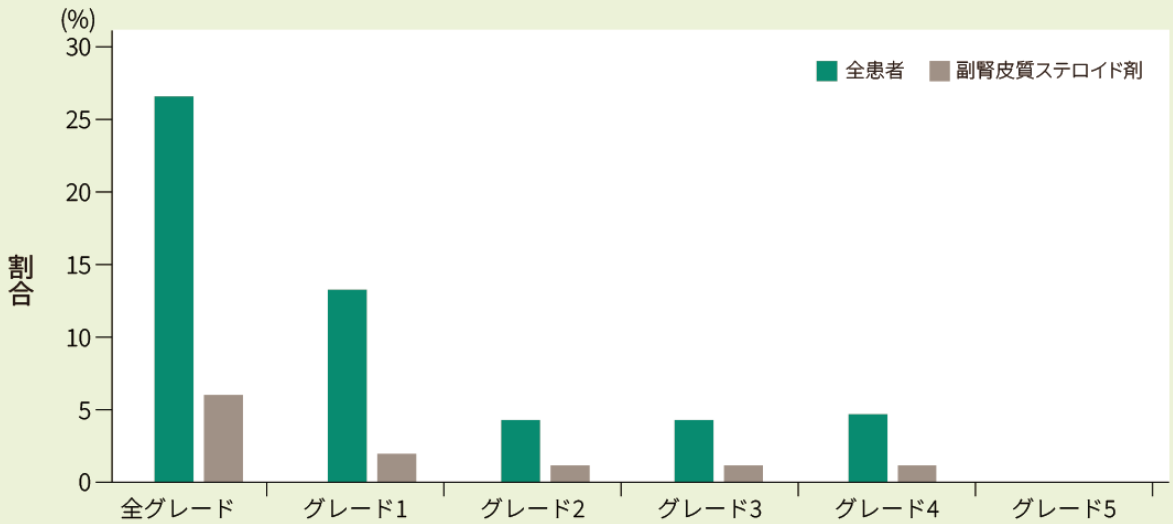

※3 国内未承認

ICANS※4□69□□27.1□□□□□□□□□□□□□□□□3□□□ICANS□23□□9.0□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□47.8□□□□□□21.7□□□□□ □18.8□□□□□ □17.4□□ □□□□□□15.9□□□□□□□□□□□□□□□□7□□□□□1-80□□□□□□□□□□□□7□□□□□1-94□□□□□□□□□□□□□□□□□□□6□□□□□

※4 □□□□□□□□□□ASTCT□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

- □□□□□□□□ALL□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

Image




28□□100□□□□□□□□□□□□□□□□□□□75□□□91□□□□□□□□28□□100□□□□□□□□□□□□□□□□□79□□□89□□□□□□□□□□□□30□□□□22□□□18□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□□□□□□□□6□ □2.4□□□□□□□□□□□AML4□□MDS2□□□□□AML□□□□□□□□□□□□□□ALL□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□3□□□□□□□□□□□MLL□□□□□□□□□□□□□□□□□AML□□□1□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

- **ALL□□□255□□□□□□CRS□□ICANS□□□□□□□□□□□□□□□□□□**

Image

| | | ALL (N=255) , n (%) |
|---|---|---|
| 低ガンマグロブリン血症 | | 134 (52.5) |
| | 免疫グロブリン補充療法で治療 | 124 (48.6) |
| 血球減少症の長期化 | | 71 (27.8) |
| | 好中球減少症 | 55 (21.6) |
| | 血小板減少症 | 46 (18) |
| 臨床的に重要な感染症 | | 118 (46.3) |
| | バクテリア | 59 (23.1) |
| | ウイルス | 57 (22.4) |
| グレード3/4の臓器毒性 | | 21 (8.2) |
| 二次性悪性腫瘍 | | 6 (2.4) |
| | AML | 4 (1.6) |
| | MDS | 2 (0.8) |
| | その他 | 0 |
| 全死亡 | | 47 (18.4) |
| 投与から30日以内の死亡 | | 8 (3.1) |
| | 進行性疾患 | 3 (1.2) |
| | その他 | 5 (2.0) |

**□□□□□□□□□□□**
**1. □□□□□□□CD19□□□B□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□CD19□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□T□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□□□□□□□□□□□□□□□□□□2□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□□□□□□□□□□□□□□1□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**2. □□□□□□□□□□□□□□□□□□B□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□CD19□□□□□□□□□□□□□□□□□□□T□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□□□**
**□ □□□□□□□□□□□□□2□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□1□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□ □□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□2□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□1□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□**
**1□ □□□□□□□□CD19□□□B□□□□□□□□□□□□□□□□**
□1□25□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□2□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□CD19□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
□3□ □□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
**2. □□□□□□□□□□□□□□□□□□B□□□□□□□**
□1□ □□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□

ALL:　acute lymphoblastic leukemia□□□□□□□□□□□□□□
ASTCT:　□□□□□□□□□□□
BOR:　best overall response□□□□□□□
CAR:　chimeric antigen receptor□□□□□□□□□
CIBMTR:　□□□□□□□□□□□□□□□□
CNS:　central nervous system□□□□□□
CR:　complete response□□□□□
CRS:　cytokine release syndrome□□□□□□□□□□□□
DOR:　duration of response□□□□□
DLBCL:　diffuse large B-cell lymphoma□□□□□□□□□B□□□□□□
EFS:　event free survival□□□□□□□□□
HSCT:　hematopoietic stem cell transplantation□□□□□□□□
ICANS:　immune effector cell-associated neurotoxicity syndrome□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□□
MDS:　myelodysplastic syndromes□□□□□□□□□
NHL:　non-Hodgkin lymphoma□□□□□□□□□□

ORR:　overall response rate□□□□
OS:　overall survival□□□□□□
PFS:　progression free survival□□□□□□□□
PR:　partial response□□□□□
RWE:　□□□□□□□□□□□□

□□□□□□
□□□□□□

Image

Image

Image

Image

Image

**Source URL:** *https://www.loadtest.pro.novartis.com/products/kymriah/results/ball_cibmtr*