

(人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針に則る情報公開)

このたび以下の研究を実施いたします。本研究への協力を望まれない場合は、問い合わせ窓口へご連絡ください。研究に協力されない場合でも不利益な扱いを受けることは一切ございません。

本研究の研究計画書及び研究の方法に関する資料の入手又は閲覧をご希望の場合や個人情報の開示や個人情報の利用目的についての通知をご希望の場合も問い合わせ窓口にご照会ください。なお、他の研究参加者の個人情報や研究者の知的財産の保護などの理由により、ご対応・ご回答ができない場合がありますので、予めご了承ください。

【研究計画名】

Remudy を用いたデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者の歩行機能に関する観察研究

【研究代表者】

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター 病院 臨床研究・教育研修部門  
中村 治雅

【研究責任者】

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター 病院 臨床研究・教育研修部門  
中村 治雅

【本研究の目的及び意義】

本研究の目的は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(Duchenne Muscular Dystrophy: 以下、DMD)の臨床情報を収集する国内最大規模の登録システム(以下、患者レジストリ)Remudy を活用し、ステロイドを服用されている患者様の歩行機能について調査することで、Remudy が今後新たな治療薬開発に寄与するものであるかを確認することです。

患者レジストリは、患者様の臨床情報等がある目的をもって収集するシステムで、「ある特定の疾患、状態又は曝露によって定義された集団の特定のアウトカムを評価するために、観察研究の手法を用いて一様なデータ(臨床情報等)を収集し、事前に決定された科学的、臨床的または政策的な目的に資する組織化されたシステムである」と定義されています。つまり、ある疾患の患者様の情報を集めて、それらを分析することで、患者様の病気の状態や、その人たちの予後など様々なことがわかるように作られた仕組みのことです。最近では、このような患者レジストリのデータを、医薬品や医療機器、再生医療等製品の臨床開発の促進や製造販売後の医薬品などを長期使用した際の有効性及び安全性の評価に活用することも注目されてきています。本研究では、DMD 患者様の歩行機能に注目し、今後の臨床試験において Remudy が活用可能であるかを改めて確認し、DMD の新たな治療法開発に寄与すると考えています。

本研究では、Remudy に収集された試料・情報を、個人が特定されない形で解析します。また、研究の継続や中止については、国立精神・神経医療研究センターの倫理委員会、神経筋疾患先端医療推進協議会の運営事務局が判断します。

【本研究の実施方法及び参加いただく期間】

対象となる方

Remudyにご登録頂いたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者様

利用する試料・情報等

情報等：年齢、性別、体重、診断名、歩行機能の有無、医薬品などの使用状況、筋生検検査の情報、ジストロフィン遺伝子検査の情報、人工呼吸器の利用の有無、車椅子の使用の有無、呼吸機能検査の結果、心機能検査の結果等

研究期間

2022年5月16日より2027年3月31日まで

【共同研究機関】

・慶應義塾大学大学院薬学研究科 医薬品情報学講座 研究責任者：堀 里子

○問い合わせ窓口

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター病院

所属 臨床研究・教育研修部門 臨床研究支援部 氏名 中村治雅

電話番号 042-341-2711(代) 内線:3165

e-mail:info-remudy-dmd※ncnp.go.jp(「※」を「@」に変更ください。)

○苦情窓口

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター倫理委員会事務局

e-mail:ml\_rinrijimu※ncnp.go.jp(「※」を「@」に変更ください。)