

(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】 小児期脊髄性筋萎縮症における治療と治療効果に関する研究

【研究責任者】 国立精神・神経医療研究センター小児神経科 本橋裕子

【本研究の目的及び意義】

脊髄性筋萎縮症 (spinal muscular atrophy ; SMA) は、脊髄前角細胞の変性・脱落を主病変とし、筋萎縮による進行性の筋力低下を特徴とする疾患です。近年、SMA に対する治療開発がめざましく、2017年にはヌシネルセンが、2020年には遺伝子治療薬であるオナセムノゲン アベパルボベックが承認販売されています。SMAは患者数が少ない疾患であり、これら新規治療薬が実臨床でより多くの患者に投与された場合、どのような効果があるのかを実臨床レベルで検証をしていくことは重要です。また、複数の治療選択肢がある状態で、各薬剤がどのような患者にどのような効果をもたらすのかの知見を集積し、各薬剤の適応や薬剤選択に関する指針の元となるようなデータを構築していくことが重要です。

本研究では、ヌシネルセンを投与されたあるいは投与されていない患者の診療録を後方視的に検証し、ヌシネルセンの効果の検証や、どのような患者でより効果が得られる、あるいは得られないのかを検証することを目的としています。なお、ヌシネルセン投与後の評価の患者様毎の結果については、個々の患者様にご説明させていただきます。

【本研究の実施方法及び参加いただく期間】

対象となる方

国立精神・神経医療研究センター小児神経科に通院歴あるいは入院歴のある SMA を有する患者  
ヌシネルセン投与を受けた患者、受けていない患者両者を含みます

利用する試料・情報等

本研究のために新たに実施される治療や検査はありません

情報等：診療録(年齢、性別、診断名、遺伝子検査結果、治療薬名、治療回数、運動機能評価・画像検査・血液検査・呼吸機能検査等の検査データ、運動発達に関する情報等)

研究期間

倫理委員会承認より2026年6月28日まで

研究に係る資金と利益相反に関する状況

本研究は、(精神・神経疾患研究開発費□□研究事業「筋ジストロフィーの臨床開発推進、ならびにエビデンス構築を目指した研究」(課題番号 2-4, 研究代表者小牧宏文, 期間: 2021年4月1日～

作成年月日： 2021年 6月28日 第1.1版  
2022年3月31日)で賄われ、特定の企業からの資金は用いません。

研究責任者(本橋裕子)と研究分担者(小牧宏文, 水野勝広)は、本研究で検証される薬剤ヌシネルセンを販売している企業バイオジェン・ジャパン(株)の依頼に基づき、本研究以外で講演(本橋裕子, 小牧宏文, 水野勝広), 監修作業(水野勝広)を実施しており、個人的な収入を得ています。本研究は、研究者が独立して計画し実施するものであり、バイオジェン・ジャパン(株)の関係者が研究の実施、データ管理、モニタリング、解析、報告に係わることはない為、研究結果がバイオジェン・ジャパン(株)に有利に歪められることはありません。本研究の利害関係(本研究全体の利害関係及び研究者個人の利害関係)については、NCNP 利益相反マネジメント委員会に報告し、その指示を受けて適切に管理しています。

○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 小児神経科 氏名 本橋裕子

電話番号

e-mail: ymotohashi※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。)