

(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)

『エクソン 44 スキップ医師主導治験の残余骨格筋検体を用いた解析研究』

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。

【対象となる方】

- ・デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対する NS-089/NCNP-02 の医師主導治験に参加された方
- ・NCNP 筋レポジトリ事業に登録され、ご提供いただいた骨格筋病理に病的意義のある異常を認めなかった方

【研究期間】

研究開始日より2028年3月31日まで

【研究代表者】 青木吉嗣(NCNP 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

【研究責任者】 進藤英雄(国立国際医療研究センター 脂質生命科学研究部)

【試料・情報の利用目的及び利用方法並びに利用する者の範囲】

- ＊ 本研究では、NS-089/NCNP-02 の医師主導治験の参加被験者の治験薬投与前・後の残余骨格筋検体を用いて、細胞膜脂質の解析を行う予定です。健常者と DMD 患者の筋組織では細胞膜脂質の組成に差異があることが既に分かっており、治験薬のようなエクソン・スキップ薬投与が DMD 患者骨格筋の細胞膜脂質へ影響を及ぼすかどうかの情報を取得することを目的とします。薬剤投与に伴い、特定の細胞膜脂質が変化することを見出せば、それは DMD における有用な治療反応マーカーとなり得ると考えます。あるいは、本研究でジストロフィン・タンパク質と細胞膜脂質の関係性が明らかとなれば、細胞膜脂質に介入することで病態を改善させる新たな DMD 治療法を提案できるかもしれません。
- ＊ 尚、健常者骨格筋を得るのは、骨格筋採取の侵襲性から困難であり、その代替として、NCNP メディカル・ゲノムセンター内に保管されている筋レポジトリ骨格筋検体のうち病理所見で病的な異常を認めなかった 8 名分の検体を用いる予定です。

【利用又は提供する試料・情報等】

試料：凍結骨格筋

情報等：診療録(年齢、性別、病理所見)

提供する試料・情報の取得の方法

試料：治験参加時に取得した骨格筋のうち残余したもの、メディカル・ゲノムセンター内に筋レポジトリーとして登録後に保管されている骨格筋

情報：カルテの診療録から入手

【利用又は提供を開始する予定日】

研究開始日を予定しています。

【共同研究機関】

国立国際医療研究センター 脂質生命科学研究部 研究責任者 進藤英雄

【試料・情報の収集・提供を行う機関】

NCNP メディカル・ゲノムセンター 筋レポジトリー事業責任者 西野一三

○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神経研究所遺伝子疾患治療研究部

所属 神経研究所遺伝子疾患治療研究部 氏名 青木吉嗣

電話番号 042-346-1720

e-mail:tsugu56※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。)