

(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)

## 『小児期発症の神経筋疾患を対象とする診療データベース構築に関する研究』

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】

2010年10月1日より2028年12月31日までの間に、当科の外来もしくは入院での診療録のある小児期発症の神経筋疾患の患者

### 【研究期間】

2024年3月15日より2029年3月31日まで

### 【研究責任者】 脳神経小児科 竹下絵里

### 【試料・情報の利用目的及び利用方法】

本研究「小児期発症の神経筋疾患を対象とする診療データベース構築に関する研究」では、2010年10月1日より2028年12月31日までの間に、当科の外来もしくは入院での診療録のある小児期発症の神経筋疾患の患者さんを対象に、カルテ情報からデータを収集し、診療データベースの構築を行います。希少疾患に該当する神経筋疾患では、対症療法のエビデンスが十分に確立していない場合も多く、臨床研究を推進し、標準的治療を確立していく必要があります。さらに臨床開発を進める上では、日々の患者さんの診療情報を長期的に管理、蓄積することが重要であり、新規治療薬の臨床試験を実施する際に速やかに患者さんのリクルートを行う上での基本となります。また、新規治療薬の市販後に長期的な有効性、安全性を検討していく上でも、それぞれの専門家、部門が統一した形式でデータを収集することが求められます。

本研究で作成する診療データベースは、電子カルテの台帳機能を用いて作成し、電子カルテ内で管理します。将来的に電子カルテからデータを取り出して別研究に活用するためにほかの媒体で解析を行う場合には、新たに研究計画を立て、当センターの倫理委員会で改めて審査を受けた上で実施します。

### 【利用又は提供する試料・情報等】

以下の情報

ID、氏名、作成日、作成者、更新日、更新者、性別、生年月日、疾患名、遺伝学的検査(遺伝子名、検査法)、遺伝子型、筋生検(実施有無、検体番号)

デュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者さんは以下も収集

ステロイド(開始日、変更日、用量、用法)、治験参加(参加有無、治験の詳細)、歩行能力、歩行不能時期、運動機能評価(床からの立ち上がり時間、10m 走行/歩行時間、Timed Up and Go テスト(TUG)、North Star

作成年月日： 2024年3月10日 第1.1版

Ambulatory Assessment(NSAA)、Brooke score、Vignos score など)、関節可動域(膝伸展、足背屈など)、心機能、呼吸機能、呼吸器使用(使用有無、使用法)

○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 脳神経小児科 氏名 竹下 絵里

電話番号 042-341-2711(内線 3388)

e-mail: erit※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。)