

（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）

『ビルトラルセンを導入したデュシェンヌ型筋ジストロフィーにおける下肢筋 MRI 画像に関する研究』

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】

ビルトラルセン投与群:「エクソン 53 スキップ治療対象となるデュシェンヌ型筋ジストロフィーの長期臨床経過に関する研究」(倫理委員会承認番号 A2020-055)で登録されたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者さん

対照群:2000年1月1日～2024年3月31日に当院脳神経小児科を受診または入院され、下肢の MRI 検査を受けたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者さんで、ビルトラルセンを投与されていない方

【研究期間】

2024年05月29日より 2029年03月31日まで

【研究責任者】

国立精神・神経医療研究センター病院 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並びに利用する者の範囲】

ビルトラルセン(製品名:ビルテプロ)を投与されたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの方で下肢筋 MRI が経時的にどのように変化するかについて、まだ情報が不足しています。本研究では、ビルトラルセンを投与された患者さん(ビルトラルセン投与群)とされていない患者さん(対照群)の下肢筋 MRI 画像を比較し、ビルトラルセンの効果について検証することを目的としています。また、診療録から下記の情報を収集し、ビルトラルセンを導入した患者さんの臨床症状や運動機能評価、臨床検査との関連についても検証します。

【利用又は提供する試料・情報等】

試料:なし

情報:下肢筋 MRI、遺伝子型、年齢、身長、体重、既往歴、合併症、手術歴、有害事象、ステロイド使用状況、ステロイド以外の薬剤使用状況、ビルトラルセン使用状況、バイタル、血液・尿一般検査、心・呼吸機能検査、X 線画像、歩行状態、歩行不能年齢、人工呼吸器使用状況、車いす使用状況、リハビリテーション介入状況、運動機能評価、The DMD Functional Ability Self-Assessment Tool(DMDSAT)、フェイススケールなどを診療録から抽出します。

【利用又は提供を開始する予定日】

2024年05月29日

【共同研究機関】

なし

【共同研究機関以外の試料・情報を取り扱う機関】

なし

○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。)