

(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】 デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象とした新たな患者レジストリを構築するための研究

【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

【本研究の目的及び意義】

本研究事業の目的は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(Duchenne Muscular Dystrophy: 以下、DMD)の病因・病態のさらなる解明、患者実態の把握、医薬品などの新たな治療の研究開発、並びに製造販売後の医薬品を長期使用した際の有効性及び安全性の評価に活用できる患者さんの登録システム(以下、患者レジストリ)を構築することです。

患者レジストリは、患者さんの臨床情報等の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、ある疾患の患者さんの情報を集めて、それらを分析することで、患者さんの病気の状態や、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。これまでも、患者レジストリは広い意味で医療の質を向上させるための情報を得ることを目的に構築され、医学系研究において病因・病態の解明、患者さんの実態把握等に長く活用されてきました。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。研究は、下記に記載する共同研究機関との共同研究で行われます。収集された試料・情報は個人が特定できない形にして共同研究機関、アカデミア、製薬企業、行政、患者団体、一般市民に提供され利活用されるがあります。利活用としての試料・情報の提供の可否については、神経筋疾患先端医療推進協議会の情報提供審査委員会に審査を依頼し、その結果報告を受けて、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

2020年3月17日より2030年2月28日までの間に、共同研究機関としての参加が承認された医療機関を受診し、ジストロフィン遺伝子検査により遺伝学的に若しくは筋病理でジストロフィン欠損が認められ、DMDと診断されており、本研究事業に文書により同意された患者さん。

利用する試料・情報等

研究対象者の背景

性別、身長、体重、生年月、診断時の年齢、診療区分(入院・外来)、診断名、既往歴、合併症、自立歩行の状況、Remudyにご登録いただいている方ではRemudy ID、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、臨床検査(血液学的検査、血液生化学検査、尿検査)の結果、呼吸機能検査の結果、心機能検査の結果、リハビリテーションの実施状況、QOL(Quality of Life)に関するアンケート調査、運動機能の検査(床からの立ち上がり時間、10 m 走行/歩行時間、上肢機能検査、ノース・スター歩行能力評価)など

臨床症状などの経過

身長、体重、診療区分(入院・外来)、前回からの入院の有無(入院「有」の場合は入院理由、入院期間)、自立歩行の状況、人工呼吸器の利用の有無、車椅子の使用の有無、いつ頃歩いたりするのが難しくなるのか、いつ頃呼吸のために機械を使うようになるのか、いつ頃車椅子を使うようになるのか、運動機能の検査(床からの立ち上がり時間、10 m 走行/歩行時間、上肢機能検査、ノース・スター歩行能力評価)、臨床検査の結果(血液学的検査、血液生化学検査、尿検査)、呼吸機能検査の結果、心機能検査の結果、リハビリテーションの実施状況、QOL(Quality of Life)に関するアンケート調査など

リハビリテーションの状況

身体症状及び有害事象(お薬などを飲んでいる人で起こった患者さんへの不具合)

研究期間

2020年3月17日より2030年2月28日まで

【共同研究機関】

国立精神・神経医療研究センター

NHO 北海道医療センター

NHO 青森病院

NHO あきた病院

NHO 鈴鹿病院

NHO 大阪刀根山医療センター

NHO 大牟田病院

東京女子医科大学

兵庫医科大学

奈良県立医科大学

滋賀県立総合病院

NHO 熊本再春医療センター

NHO 医王病院

NHO 長良医療センター

NHO 東埼玉病院

岐阜大学医学部附属病院

NHO まつもと医療センター

研究責任者：中村 治雅 (研究代表者)

研究責任者：石川 悠加

研究責任者：高田 博仁

研究責任者：小林 道雄

研究責任者：久留 聡

研究責任者：松村 剛

研究責任者：荒畑 創

研究責任者：石垣 景子

研究責任者：竹島 泰弘

研究責任者：杉江 和馬

研究責任者：井上 賢治

研究責任者：石崎 雅俊

研究責任者：脇坂 晃子

研究責任者：船戸 道德

研究責任者：尾方 克久

研究責任者：久保田 一生

研究責任者：中村 昭則 (次ページへ続く)

作成年月日： 2025 年 9 月 22 日 第 2.6 版

NHO 仙台西多賀病院
熊本大学病院
京都大学医学部附属病院
NHO 西新潟中央病院
NHO 広島西医療センター
NHO 箱根病院
愛媛大学医学部附属病院
秋田県立医療療育センター
山形大学医学部
国立成育医療研究センター
群馬県立小児医療センター
安城更生病院
NHO 新潟病院
倉敷成人病センター・倉敷成人病クリニック
長崎大学病院
鹿児島大学病院
社会福祉法人榆の会こどもクリニック
東北大学病院
大館市立総合病院
宮城県立こども病院
青森県立はまなす医療療育センター
一般財団法人筑波麓仁会筑波学園病院
順天堂大学医学部附属病院順天堂医院
埼玉医科大学病院
NHO とくしま医療センター西病院
愛知医科大学
名古屋市立大学医学部附属東部医療センター
長野県立こども病院
琉球大学病院
千葉大学医学部附属病院
総合病院土浦協同病院
九州大学医学部
※NHO：独立行政法人国立病院機構

研究責任者：高橋 俊明
研究責任者：小篠 史郎
研究責任者：吉田 健司
研究責任者：遠山 潤
研究責任者：古川 年宏
研究責任者：北尾 るり子
研究責任者：元木 崇裕
研究責任者：澤石 由記夫
研究責任者：三井 哲夫
研究責任者：阿部 裕一
研究責任者：椎原 隆
研究責任者：久保田 哲夫
研究責任者：木下 悟
研究責任者：赤池 洋人
研究責任者：里 龍晴
研究責任者：丸山 慎介
研究責任者：須藤 章
研究責任者：植松 貢
研究責任者：丹代 諭
研究責任者：萩野谷 和裕
研究責任者：盛島 利文
研究責任者：絹笠 英世
研究責任者：服部 信孝
研究責任者：山内 秀雄
研究責任者：宮崎 達志
研究責任者：岩山 秀之
研究責任者：服部 文子
研究責任者：本林 光雄
研究責任者：仲村 貞郎
研究責任者：内田 智子
研究責任者：高橋 孝治
研究責任者：酒井 康成

2025年9月

○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 臨床研究・教育研修部門
所属 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

作成年月日： 2025 年 9 月 22 日 第 2.6 版

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。)