臨床研究

「脊髄性筋萎縮症の臨床症状把握のためのデータベース構築と解析研究」

についてのお知らせ

独立行政法人国立病院機構大阪刀根山医療センターでは上記の研究を実施しています。この研究は当院の臨床研究審査委員会での承認を得て病院長の許可を得て実施しています。本研究では、研究対象者に直接文書・口頭で説明・同意をいただく必要は無いと判断していますが、情報を公開することで研究の実施について周知させていただいています。この研究の詳細をお知りになりたい場合、他の研究対象者の個人情報や、研究の知的財産の保護に支障が無い範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することができますので下記の「問い合わせ先」にお申し出ください。また、この研究に情報を利用することをご了解できない場合は研究対象としませんので、下記の「問い合わせ先」ご連絡ください。その場合でも、患者さんに不利益が生じることはありません。

1. 研究課題名

   脊髄性筋萎縮症の臨床症状把握のためのデータベース構築と解析研究

2. 研究責任者

   齊藤　利雄　国立病院機構大阪刀根山医療センター　小児神経内科部長

3. 研究の背景

   脊髄性筋萎縮症は，脊髄前角細胞の変性・脱落によって，体幹・四肢の筋萎縮・筋力低下を呈する運動ニューロン疾患です。この疾患は、発症時期と到達した運動マイルストーンに基づき、1～4 型の臨床病型に分類されます。1 型は乳児期発症の重症型、2 型は座位保持は可能ですが歩行は出来ない中間型、3 型は軽症型とされていますが、歩行が困難になることも多く、4 型は成人発症の最軽症型とされています。最近、ヌシネルセンを初めとする新規治療薬が登場し、投与による運動症状の改善が報告されていますが、希少疾患であり指定難病でもある本疾患では、患者さんの病状経過がどのようになるかといった基礎的な臨床情報が十分とはいえません。本疾患の臨床経過を把握するのに役立つ臨床症状のデータベースをまとめたいと考えています。

4. 研究の目的・意義

   指定難病である脊髄性筋萎縮症の臨床症状データベースを構築し、その情報を解析することは、今後脊髄性筋萎縮症の種々の研究や、薬物の効果を判断するための重要な情報となることが期待されます。これは，医学的，社会学的にも意義のあることと考えられます。

5.　研究の方法

(ア) 対象となる患者さん

脊髄性筋萎縮症と診断された患者さん　年齢性別は問いません

(イ) 研究期間

2020年7月から2025年3月

(ウ) 利用する情報の項目と利用目的

以下の情報を収集し、解析します。

通常行っているもので、追加の検査はありません。

研究対象者の方の背景：　生年月、性別、診断根拠、既往歴、運動発達歴など

- 臨床情報：身長、体重、運動機能、呼吸状態、栄養管理状態、ほか合併症など
- 投薬治療内容
- リハビリテーションで日常臨床評価として行っている運動機能評価
- 臨床検査

血液検査、胸部・脊柱レントゲン、MR、CT、心エコー、心電図、呼吸機能検査など

. アンケート調査　Voice Handicap Index (VHI)（発声に関するアンケートです）

EAT-10（嚥下に関するアンケートです）　など

(エ) 試料や情報の管理　　試料や情報は、当院のみで利用します。

6.　研究組織　この研究は、当院単独で実施されます。

7.　個人情報の取扱い

試料や情報には個人情報が含まれますが、利用する場合には、お名前、住所、生年月日など、個人を直ちに判別できるような情報は削除します。また、研究成果は学会や学術雑誌で発表されますが、その際も個人を直ちに判別できるような情報は利用しません。情報は、当院の研究責任者が責任をもって適切に管理いたします。

8.　問い合わせ先

独立行政法人国立病院機構 大阪刀根山医療センター

研究責任医師：齊藤　利雄（脳神経内科・小児神経内科部長）

電話：06−6853−2001　　FAX：06−6853−3127

Mail: 410-chiken@mail.hosp.go.jp

2023年7月10日　第2版