

患者さん及び保護者の皆様へ

「筋ジストロフィーの新規治療法確立に向けた次世代高感度・高精度タンパク定量法の確立」に関する研究について

神戸大学医学部附属病院小児科では、筋ジストロフィーの治療薬の開発のために、治療の有効性の確認に必要となる高い感度で、信頼性・再現性が高いジストロフィン蛋白測定法の開発に係る以下の研究を実施しております。

この研究についてご質問等ございましたら、最後に記載しております[問い合わせ窓口]までご連絡ください。

[研究概要および既存試料の利用目的]

神戸大学医学部附属病院小児科ではデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する新規治療法の開発に関わる治験・臨床研究を行っています。そのような治療法の有効性を評価するためには、この疾患において欠損しているジストロフィン蛋白の信頼性の高い測定法が必要となります。しかしながら、現状の測定法では、その感度が十分とは言えません。

そこで、本学では治療薬の効果を敏感かつ正確に評価可能となる新たな測定系の開発に企業等と共同にて着手しています。この測定法の開発は本学ではなく、外部の機関で実施しています。

測定法の開発にあたって、本疾患患者さんとジストロフィン異常の認めない方の筋組織が必要となります。そのために、神戸大学医学部附属病院小児科において今までに診断・治療を目的に筋生検を行った患者さんの保存試料を使用します。試料は、測定法の確立の材料として感度や検出の正確性を判断するために使用されます。

[研究期間]

神戸大学大学院医学研究科長承認年月日から平成28年3月31日にかけて行う予定です。

[提供試料について]

対象の試料（筋組織）は、1995年以降に神戸大学医学部附属病院小児科において検査・治療のために筋生検を行い、検査後の残余試料を凍結保存（6例程度を予定）しているものを使用します。患者さんに健康被害発生リスクや経済的負担はありません。

[試料の提供方法及び個人情報保護]

試料は、個人を特定できない形で外部機関へ提供します。試料に係る情報として（疾患名、採取年月日、年齢など）を必要とすることがありますが、個人が特定される情報（氏名や重症など）は一切提供いたしません。

[研究参加による利益・不利益]

利益；患者さん個人に直接利益となることはありませんが、研究結果が、筋ジストロフィ一の治療法開発につながる可能性があります。

不利益；特にありません。

なお、本研究により知的財産権が生じることがありますが、神戸大学または共同開発企業に帰属します。

[研究終了後の筋組織について]

研究終了後の試料については、本学において保存します。

[研究成果の公表について]

研究成果が学術目的のために論文や学会で公表されることがありますが、その場合も、患者さんの個人情報の秘密は厳重に守られますので、第三者に患者さんの個人情報が明らかになることはありません。

[試料の利用の取り止めについて]

いつでも可能です。試料利用の取りやめを要請する場合には、下記[問い合わせ窓口]までご連絡ください。まず、ご自身またはご家族の試料が本研究で使用されているかお知らせします。そのうえで、参加辞退の希望を受けた場合、それ以降、患者さんの試料を本研究に用いることはありません。もし、取りやめの要請時に、すでに試料を使用して得られたデータが存在する場合は、そのデータを破棄し一切使用しません。

[問い合わせ窓口]

この研究についてのご質問だけでなく、ご自身の試料が本研究に用いられているかどうかをお知りになりたい場合や、あるいはご自身の試料の使用を望まれない場合など、この研究プロジェクトに関することは、どうぞ下記の窓口までお問い合わせ下さい。

神戸大学医学部附属病院小児科

森貞直哉

連絡先：078-382-6090