

## （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】 Remudy-DMD 登録患者の疫学研究

【研究責任者】 中村 治雅（病院臨床研究・教育研修部門 臨床研究支援部）

### 【本研究の目的及び意義】

本研究の目的は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(Duchenne Muscular Dystrophy: 以下、DMD)の臨床情報を収集する患者レジストリRemudy-DMD(NCNP 倫理委員会承認番号:B2019-002)を活用し、患者さんの患者背景、臨床症状(現在受けている治療に関する有効性及び安全性も含む)を明らかにすることを目的としています。本研究の解析で得られた結果は、患者の病態を明らかにするとともに、使われている治療薬の臨床開発促進や安全性監視活動への寄与が期待されます。

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が注目されてきています。Remudy-DMDは、まさにそのために作られたレジストリであり、本研究によって、その意義も明らかになると思われます。

本研究では、Remudy-DMDに収集された試料・情報を、個人が特定されない形で解析します。

### 【本研究の実施方法及び参加いただく期間】

#### 対象となる方

Remudy-DMDにご登録頂いたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者様

#### 利用する試料・情報等

Remudy-DMDにご登録いただいている臨床症状情報

(年齢、性別、体重、診断名、歩行機能の有無、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、呼吸機能検査の結果、心機能検査の結果、投与されている治療薬、運動機能、副作用と思われる症状等)

#### 研究期間

倫理審査委員会承認後より2027年3月31日まで

○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 臨床研究・教育研修部門 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

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。)