

神経型ゴーシェ病患者を対象としたアンブロキシソール塩酸塩を用いたシャペロン療法の有効性及び安全性を評価する2コホート、非無作為化、多施設共同研究（Japan-Ambroxol Chaperone Study: J-ACT study）」に参加中/参加された患者さん・ご家族の皆様へ

はじめに

鳥取大学医学部附属病院脳神経小児科では、神経症状のあるゴーシェ病の患者さんを対象として、アンブロキシソール塩酸塩を用いたシャペロン療法の効果と安全性を確認する臨床研究（J-ACT study）を実施しています。神経症状のあるゴーシェ病の患者さんは世界的にも非常に稀であり、病気の解明や治療薬の開発のために、病気のサイン（これらをバイオマーカーといいます）を見つけ出す研究がとても重要です。そのため、この研究では将来的にバイオマーカーを調べるために、ご同意が得られた患者さんを対象に血液や髄液を保存させて頂いております（これらを保存検体と呼びます）。今回、この研究計画を変更して、これらの保存検体を用いて、ゴーシェ病のバイオマーカーを調べることを計画しました。なお、現在実施中の臨床研究（J-ACT study）は先行研究を継続し、発展させた研究です。そのため、J-ACT studyに参加するにあたり、先行研究からこの試験に移行された患者さんにおいては、先行研究で得られた残余検体のうち二次利用についてご同意を頂いたものに関しても同様の測定を行います。

先行研究：

- ・ 神経型ゴーシェ病に対するアンブロキシソール塩酸塩を用いたシャペロン療法の有効性と安全性に関する試験（CHANGE 試験）：jRCTs061180090
- ・ 神経型ゴーシェ病患者を対象としたアンブロキシソール塩酸塩（JT408T）を用いたシャペロン療法の有効性及び安全性を評価する第Ⅱ/Ⅲ相オープン試験（J-LO 試験）：JMA-IIA00421

この研究は鳥取大学医学部附属病院臨床研究審査委員会の承認を受けており、全国の医療機関と協同して行っています。詳細は以下のとおりです。

1. 研究概要および利用目的・方法

本研究では、研究の実施が許可された日から研究終了時までの期間に採取・保存された検体（血液）を用いてゴーシェ病の神経症状に関連すると考えられるバイオマーカーの測定を行います。くわえて、先行研究で得られた残余検体のうち二次利用についてご同意を頂いたものに関しても測定を行い、バイオマーカーの長期的な経過を評価します。保存検体は、鳥取大学医学部附属病院に送付され、鳥取大学医学部附属病院を介して測定機関に送られます。なお、検体は研究代表医師が責任を持って保管、管理します。すべての情報は、鳥取大学医学部附属病院に電子的に送付され、集計されます。

本研究の対象となる患者さんは、他の研究対象者への個人情報保護や本研究の独創性の確保に支障がない範囲で、研究計画書及び研究の方法についての資料を入手又は閲覧することができます。希望される方は、遠慮なく問合せ窓口にお申し出ください。

2. 取り扱う検体（測定項目）

本研究および先行研究で既に採取保存された血液を用いて、以下の項目の濃度を測ります。追加の採血はありません。

- ・血中グルコシルスフィンゴシン濃度
- ・血中ニューロフィラメント軽鎖濃度
- ・血中グリア線維性酸性タンパク濃度

3. 研究期間

この研究は、jRCT（臨床研究等提出・公開システム）で研究計画が公開された日から研究終了まで行う予定です。

4. 個人情報保護の方法

患者さんの情報／検体は、研究代表医師が責任をもって保管、管理します。また、氏名、イニシャル、住所、電話番号、カルテ番号などの直ちに個人を識別できる個人情報は匿名化*され、本研究では匿名化された情報を使用、提供します。このようにして患者さんの個人情報の管理については十分に注意を払います。

*匿名化について：本研究にご提供いただく検体に関する情報については、患者さんの氏名、住所、電話番号、カルテ番号など、患者さん個人を直ちに特定できるような情報をすべて削除し、代わりにこの研究用の登録番号をつけます。なお、研究の過程で情報がどの患者さんのものかを知る必要がある場合も想定されます。その場合に備えて、情報と患者さん個人を結びつけることのできる対応表を作成させていただきますが、この対応表は研究代表医師によって鍵のかかる保管庫で厳重に管理されます。

5. 研究への検体提供による利益・不利益

利 益・・・今回の研究に検体をご提供いただいた患者さん個人には、特に利益と考えられるようなことはございませんが、研究の成果は、将来の治療法の進歩に有益となる可能性があります。なお、検体を使用させていただいた患者さんへの謝礼等もありません。

不利益・・・保存検体の使用のみであるため、特にありません。

6. この研究終了後の検体と検体に関する情報の取り扱いについて

神経型ゴーシェ病は世界的にも超希少難病であり、病態の解明や薬剤開発のためのバイオマーカーの探索が今後も必要です。そのため、検体については、鳥取大学医学部附属病院に

において可能な限り長期間保管させていただきます。また、検体は他の研究に使用させていただくことがあります。その場合は、新たに研究計画をたてて倫理審査委員会での審査を経て、他の研究に使用させていただきます。

保管期間終了後は、匿名化のうえ適切な方法で廃棄します。

7. 研究への検体とその情報使用の取り止めについて

患者さん個人の検体を研究に用いられたくない、または検体の提供を停止したい場合には、いつでも取り止めることができます。取り止めに希望された場合でも、担当医師や他の職員と気まずくなることはありませんし、何ら不利益を受けることはありませんので、下記【問い合わせ窓口】までお申し出ください。保護者の方（父母、成人の兄弟、祖父母、同居の親族などの近親者）やご家族の方からの研究不参加のお申し出やお問い合わせに対しても対応いたします。

取り止めの希望を受けた場合、患者さんの検体を使用することはありません。取り止めに希望した時点で、すでに研究成果が論文などで公表されていた場合には取り止めできない場合があります。

8. 当該臨床研究に係る資金源について

本研究の実施のために JCR ファーマ株式会社から資金提供を受けていますが、鳥取大学医学部附属病院臨床研究審査委員会に報告し、利益相反管理を適正に行います。なお、この研究に関わる研究者には、JCR ファーマ株式会社と利益相反関係を有している者が含まれます。また、本研究で得られた結果は、JCR ファーマ株式会社より厚生労働省に提出し、神経症状のあるゴーシェ病に対する治療薬として国に承認を得るために用いる可能性があります。

9. 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、患者さんの個人が特定される情報は全て削除して公表します。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 that 明らかになることはありません。

10. 知的財産権の帰属について

本研究の結果、特許などの知的財産が生じる可能性もございますが、その権利は鳥取大学に帰属し、あなたには帰属しません。

11. 研究代表施設および研究代表者の情報

前垣 義弘 鳥取大学医学部附属病院 脳神経小児科 教授
〒683-8503 鳥取県米子市西町 36-1
TEL：0859-38-6777

12. 問い合わせ窓口

本研究についてのご質問だけでなく、患者さんの検体が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、患者さんの検体の使用を望まれない場合など、この研究に関することは、下記の窓口までお問い合わせ下さい。

【研究責任医師】

前垣 義弘 鳥取大学医学部附属病院 脳神経小児科 教授
〒683-8504 鳥取県米子市西町 36-1
TEL：0859-38-6777

＊この研究に関する情報は、鳥取大学医学部附属病院のホームページに掲載しております。

（URL：<https://www2.hosp.med.tottori-u.ac.jp/departments/center/amirt/2115/3186/3294/>）

13. 研究実施機関および研究責任者

研究実施施設および研究責任医師は、jRCT（<https://jrct.mhlw.go.jp/>）で公開しています。なお、研究実施施設の追加や研究責任医師の変更があった場合もホームページで公開します。