

## 研究協力のお願ひ

この度、本学において下記の内容にて観察研究を行うことになりました。ご理解・ご協力のほど、よろしくお願い致します。

大阪医科大学

小児科学教室

### 記

研究課題名：国内小児非典型溶血性尿毒症症候群患者を対象とした血漿療法またはエクリズマブ投与後の転帰に関する後ろ向き観察研究

研究の意義：非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）は様々な補体調節因子の異常により発症し、非常に予後が悪い疾患です。従来、血漿交換療法をはじめとする血漿治療がまず行われる治療として推奨されてきました。一方、近年、補体因子である C5 因子を阻害するモノクローナル抗体製剤であるエクリズマブが開発され、本疾患に対する有効性が報告されるようになりました。しかし、aHUS を発症する補体調節因子異常の種類を含めた疾患背景により治療の選択が可能であるかどうか、また、疾患予後は治療法により異なるのかなど不明な点はまだまだたくさんあります。本研究では、血漿治療、エクリズマブ治療を行った患者様を後方視的に疾患背景も含めて比較検討することで、これらの治療の有効性およびその予後に対する影響を明らかとし、本疾患の治療戦略決定に有益な情報を与えることが可能となることを想定しています。本研究の意義はここにあります。

研究の目的：本研究の主要目的は、小児 aHUS 患者(15 歳未満で発症)を対象に、血漿交換を主とする血漿治療とエクリズマブ投与(エクリズマブ単独投与または血漿治療後のエクリズマブ投与)における血栓性微小血管障害症の転帰を明らかとすることで、その目的を達成するため両治療の小児 aHUS に関する有用性の比較、患者特性の比較、および観察終了時の予後による分類での患者背景の比較を行います。

研究の対象：小児期(15 歳未満)で発症した非典型溶血性尿毒症症候群患児

研究の方法：小児 TMA 発症に関するアンケート調査 (Ashida A, et al Clin Exp Nephrol 2018;

22(4): 924-930, 本学倫理委員会承認研究番号 1823) において aHUS 患者を加療中であるとの回答が得られた施設に対して、2011 年 1 月より 2018 年 9 月までに発症した aHUS 患者に関するアンケート調査を実施し、発症時、経過中の 8 週目、26 週目、最終観察時のデータを収集し、各治療の有効性について検討します。観察の方法は後方視的に診療録より発症時から aHUS の臨床診断時、治療開始時点（もしくは治療切り替え時点）治療開始後 8 週間後(±2 週間)、26 週間後(±2 週間)、最終観察時の血液データ、尿検査データを収集するとともに疾患患者背景としての、体格(身長、体重)、血圧、再発の有無、遺伝子変異の有無、治療詳細などについての情報をアンケート調査より得たうえで、両治療法についてその有効性を検討します。

ご自身の情報を研究に使用させて頂くことに対して同意頂けない場合は、下記の申し出先までご連絡ください（対象者の代理人からの申し出も受付いたします）。申し出をされた場合は、当該研究への利用はいたしません。しかしながら、研究結果が出た後の参加拒否の申し出については、データを研究結果から削除することができかねますので、予めご了承ください。

対象者の方（その代理人）の申し出により、他の対象者の方の個人情報保護や当該臨床研究の独創性の確保に支障がない範囲内で、当該臨床研究計画及び当該臨床研究の方法に関する資料を入手又は閲覧できます。

本研究にて取得しました情報は、当該研究に関わる者と個人情報の管理者（余田 篤）が利用いたします。

研究期間：2019 年 3 月 6 日～2022 年 3 月 1 日

個人情報の内容およびその利用目的、開示等の求めに応じる手続き：

本研究で得る情報は、aHUS 症例の発症時及び臨床診断時、治療開始時、経過観察時(8 週および 26 週)、最終観察時での血液データおよび尿検査データと発症時年齢、性別、病因、とともに疾患患者背景としての体格(身長、体重)、血圧、再発の有無、遺伝子変異の有無、治療詳細についての情報を得て、この情報をもとに aHUS の病態や血漿治療、エクリズマブ治療の有効性の実態を明らかにするため本研究に用います。本研究の研究計画書及び研究の方法に関する資料、研究の実施に

伴って取得し、研究機関で保有する個人情報の開示については、所定の手数料を支払いただき、他の研究対象者等の個人情報及び知的財産の保護等に支障がない範囲内に限って閲覧が可能です。その際には、個人情報の取り扱いに関する相談窓口にご相談ください。

個人情報の取り扱いに関する相談窓口： 大阪医科大学小児科学 講師 芦田 明

利益相反について：

本学は、臨床研究を含む自らの研究成果について積極的に地域社会へ還元することで、社会から求められる研究拠点を目指しております。一方で、研究に関連して研究者が企業から経済的利益を得ている場合には、研究の成果が歪められる、または歪められているとの疑念を抱かれる可能性が出てきます。このような利益相反の状態を適切に管理し、研究の透明性、信頼性および専門性を確保していることを社会に適切に説明するため、本研究は、本学の利益相反マネジメント規程に則して、実施されております。

本研究を実施するにあたり、1症例あたりでの受託契約でアレクシオンファーマ会社より、小児科学教室が受け取る予定です。をアレクシオンファーマと締結する予定です。受託契約が締結された際には、契約締結情報を委員会に報告いたします。

研究者名：

大阪医科大学小児科学 講師 芦田 明

大阪医科大学小児科学 助教 松村英樹

大阪医科大学小児科学 大学院生 山崎 哲司

大阪医科大学小児科学 大学院生 藤井 裕子

大阪医科大学医療統計室 室長 伊藤 ゆり

問い合わせ、参加拒否の申し出先：〒569-8686 大阪府高槻市大学町2番7号

大阪医科大学

小児科学教室

担当：芦田 明

TEL 072-683-1221(代表) 内線 2356