

先天性心疾患を伴う肺動脈性肺高血圧症例の多施設・前向き症例登録研究

(1) 研究の概要について

承認番号： 第 M2017-325 番

研究期間： 研究実施許可日から西暦 2030 年 3 月 31 日

研究責任者： 徳島大学病院 地域小児科診療部 早瀬康信

<研究の概略>

肺高血圧症に対する治療の内容、治療の有効性、副反応の有無、生活の質など、皆さんの治療経過に関する情報を、インターネットを介して収集し、統計処理を行います。また、研究に参加していただく前の診療情報（診断・治療内容等）を提供いただくことがあります。

この臨床研究は、医学系倫理審査委員会の承認及び機関の長の許可を得て実施するものです。

(2) 研究の意義・目的について

それぞれの病気の診断や治療は、長い期間をかけて進歩・発展してきて現在の方法になっています。また、より効果的で安全な治療を患者さんにお届けするためには、これからも医療の進歩・発展は重要なことです。このような診断や治療の方法の進歩・発展のためには多くの研究が必要ですが、その中には健康な人や患者さんを対象に実施しなければならないものがあります。これを「臨床研究」と言います。臨床研究は患者さんを始めとした多くの方々のご理解とご協力によって成り立つものです。

臨床研究にはいろいろな種類がありますが、今回ご説明する研究は「観察研究」と呼ばれているものです。これは、新しいお薬や治療法を試す研究ではなく、現在、標準的と考えられている治療を行い、その結果を「観察」させていただくものです。つまり、今のあなたの病気の状態からみた標準的な治療を行い、その治療前、治療中あるいは治療後のあなたの身体所見や検査結果などをデータとして集めさせていただきます。これらのデータを分析することにより、病気の原因の解明やよりよい治療方法の開発に役立てようとするものです。したがって、通常の治療を行いながら、あなたのデータを利用させていただくことが、今回の臨床研究でお願いすることです。

あなたの病気は肺動脈性肺高血圧症であり、近年の新しい肺高血圧症治療薬の承認に伴い、先天性心疾患を伴う肺動脈性肺高血圧（CHD-PAH）患者さんの治療成績も向上したと推測されます。しかしながら、本邦における、CHD-PAH 患者さんへの治療内容・治療成績に関する大規模なデータは未だ得られていません。

(3) 研究の方法について

この研究は、徳島大学病院に通院（または入院）中の肺高血圧症の患者さんを対象とします。ただし、その他の合併症や治療経過により、担当医師が不適切と判断した患者さんは除きます。なお、この研究では 20 歳以下の方も対象に含めることとさせていただきますので、その場合は、ご本人の同意に加え、親権者の方にもご説明し、同意をいただくこととなります。ご理解ご協力をお願いします。

なお、この研究では上記の患者さんが対象となるため、ご自身で十分な理解の上同意をしていただくことが難しい患者さんを対象に含めることとさせていただきました。その場合は、ご家族など

代諾者の方にもご説明し、同意をいただくこととなりますので、ご理解ご協力をお願いします。

この研究の実施期間は、2030年3月31日までです（期限は設定せず可能な限り長期に研究を継続する予定で、5年毎に延長申請を行う予定です）。全国で600名の患者さんの参加を予定しています。そのうち、当院では、20名の方に参加いただく予定です。

スケジュール表

項目	時期	登録前	登録時	観察期間（6ヶ月ごと）										
				Visit 1	Visit 2	Visit 3	Visit 4	Visit 5	Visit 6	Visit 7	Visit 8	Visit 9	Visit 10	
時期の許容範囲														
対象候補者の選出		●												
文書同意取得		●												
選択基準・除外基準の確認		●												
生年月			●											
在胎週数（2歳以下の症例のみ）			●											
出生時体重（2歳以下の症例のみ）			●											
性別			●											
肺高血圧症診断日			●											
先天性心疾患の主病名			●											
心疾患の治療の有無			●											
肺高血圧症の病因分類			●											
染色体異常・背景となる症候群に関する情報			●											
心電図調律			●											
身長			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
体重			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
妊娠の有無			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
NYHA 心機能分類			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
6分間歩行距離			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
Borg 呼吸困難指数			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
QOL の評価(EQ5D VAS scale)			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
動脈血酸素飽和度			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
肺機能検査データ			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
臨床検査数値・バイオマーカー ¹⁾			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
肺高血圧症治療状況の変化			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
右心カテーテル検査			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
心エコー検査データ			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
抗凝固療法			●	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
臨床的増悪 ²⁾ の有無				○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
肝逸脱酵素の上昇				○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
その他の薬物副作用				○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
手術あるいはカテーテル治療の実施				○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○
新たな治験参加の有無				○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○

● 必須項目

○ 可能な限り調査する

1) 総ビリルビン(mg/dL), 血清クレアチニン(mg/dL), 尿酸(mg/dL), 脳性利尿ペプチド(BNP または NT-pro BNP)

2) 死亡, 肺移植, 心房中隔裂開術, NYHA 機能分類の悪化, 治療強化を必要とする状態, 肺高血圧症による入院

(4) 試料等の保管・廃棄と、他の研究への利用について

この研究で収集したデータは東京大学医学部附属病院内のサーバに保管いたします。特定の個人を識別できないように加工された状態で保管され、個人を識別するための対応表は当院にて厳重に保管します。保管期間は、研究終了後5年間までです。保管期間が終了した時点で個人情報特定されない適切な方法にて破棄します。

この研究で得られたデータは、第三者機関へ共有されることがあります（第三者機関がデータを利用することを二次利用と言います）。提供されるデータは匿名化され提供先の目的に絞ったものに限られます。情報を提供する際には、提供先の倫理審査委員会で承認が得られており、かつ本研究の運営委員会で合意が得られた場合のみとなります。また、二次利用機関への情報提供は、その内容を十分に理解して頂いた上で同意が得られた場合にのみ行われます。海外への情報提供の可能性もありますが、現時点で提供する国が決まっているわけではなく、今後提供依頼に応じて検討します。情報提供先の候補としては製薬会社などが考えられるため、海外の場合は欧米諸国への情報提供の可能性ががあります。

他の目的で使用することはありませんが、現時点では特定されない将来の研究の用いる可能性があります。その場合には、あらためて医学系倫理審査委員会において審査し、承認を得たうえで実施します。

(5) 予測される結果（利益・不利益）について

この研究は、健康保険で認められた通常範囲内の医療行為のもとで行ないます。本研究に関連して患者さんに健康被害が生じた時には、すみやかに適切な診断・治療その他最善の措置が受けられるように、研究に関わる医師が対応いたします。健康被害の治療費には健康保険を用います。健康被害が医薬品による場合は医薬品副作用被害救済制度を適用します。

(6) 研究協力の任意性と撤回の自由について

この研究にご協力いただくかどうかは、あなた^(注)の自由意思に委ねられています。もし同意を撤回される場合は、同意撤回書に署名をし、ご提出ください。研究にご協力いただけない場合にも、あなたの不利益につながることはありません

(注)・・・代諾者を含む。以下同じ

(7) 個人情報の保護について

この研究にご参加いただいた場合、あなたから提供された診療情報などのこの研究に関するデータは、個人を特定できない形式に記号化した番号により管理され、東京大学医学部附属病院内のサーバにのみ保存されますので、あなたの個人情報が外部に漏れることは一切ありません。また、この研究が正しく行われているかどうかを確認するために、倫理委員会やモニタリング担当者などが、あなたのカルテや研究の記録などを見ることがあります。このような場合でも、これらの関係者には、記録内容を外部に漏らさないことが法律などで義務付けられているため、あなたの個人情報は守られます。

(8) 研究に関する情報公開について

この研究に関しては、日本小児循環器学会 (<http://jspccs.jp/>) のホームページ、UMIN (大学病院医療情報ネットワーク UMIN 試験 ID UMIN000032366 臨床試験登録システム) で公開しています。

研究の成果は、あなたの氏名など個人情報が明らかにならないようにした上で、学会発表や学術

雑誌及びデータベース上で公表させていただきます。

(9) 費用について

今回の研究に必要な費用について、あなたに負担を求めることはありませんが、通常の外来診療における自己負担分はご負担いただきます。なお、あなたへの謝金はありません。

(10) 研究資金および利益相反について

本研究で用いる情報管理システムの運用は特定非営利活動法人 Japan PH registry (JAPHR) の運営資金で行われます。その他、東京科学大学の研究費を用いて行われます。実施にあたっては、利益相反マネジメント委員会に対して研究者の利益相反状況に関する申告を行い、同委員会による確認を受けています。利益相反とは、研究者が企業など、自分の所属する機関以外から研究資金等を提供してもらうことによって、研究結果が特定の企業にとって都合のよいものになっているのではないか・研究結果の公表が公正に行われたいのではないかなどの疑問が第三者から見て生じかねない状態のことを指します。本研究は、利益相反状態が存在することによる研究対象者への不利益や研究の公平性への悪影響はないと判断されました。また、学会発表や論文の公表にあたっては、資金について公表し、研究の透明化を図って参ります。

※利益相反とは、研究者が企業など、自分の所属する機関以外から研究資金等を提供してもらうことによって、研究結果が特定の企業にとって都合のよいものになっているのではないか・研究結果の公表が公正に行われたいのではないかなどの疑問が第三者から見て生じかねない状態のことを指します。

(11) 問い合わせ等の連絡先：

研究者連絡先： 徳島大学病院 地域小児科診療部 早瀬康信
〒770-8503 徳島市蔵本町2丁目50-1
088-633-7135

※他の研究参加者の個人情報や研究の独創性の確保に支障が生じない範囲内で、研究計画書や研究の方法に関する資料を閲覧することができます。ご希望の際は、上記の研究者連絡先までお問い合わせください。