

# 説明書

患者様用

臨床研究課題名

脊髄小脳変性症患者神経細胞凝集体伝播の解析

## (1) 研究への参加をお願いする理由

遺伝性脊髄小脳変性症は主に常染色体優性遺伝形式を示し、1-2万人に1人の割合で発症します。全ての病型に対して現在までのところ有効な治療法は確立されていません。治療法開発には病態解明が必要不可欠であり、これまでに脊髄小脳変性症モデルマウスを用いた研究から、病気の原因たんぱく質の作用が調べられてきています。また、脊髄小脳変性症モデルマウスに有効な治療法も開発されてきています。したがって、脊髄小脳変性症の患者さんの病態を調べる次のステップとして、脊髄小脳変性症モデルマウスで同定された病気の原因たんぱく質の動態を脊髄小脳変性症患者さんの神経細胞の中で調べる事が必要です。その目的のために、脊髄小脳変性症患者さんから皮膚を提供していただき、人工多能性幹細胞(iPS細胞)を作成いたします。iPS細胞から培養神経細胞を作り出し、病気の原因たんぱく質の動態を調べます。以上の目的から脊髄小脳変性症の患者さんに本臨床研究への参加をお願いします。本研究計画は群馬大学医学部附属病院臨床試験審査委員会で審査され群馬大学医学部附属病院長により承認されたものです。

## 人工多能性幹細胞(iPS細胞)とは

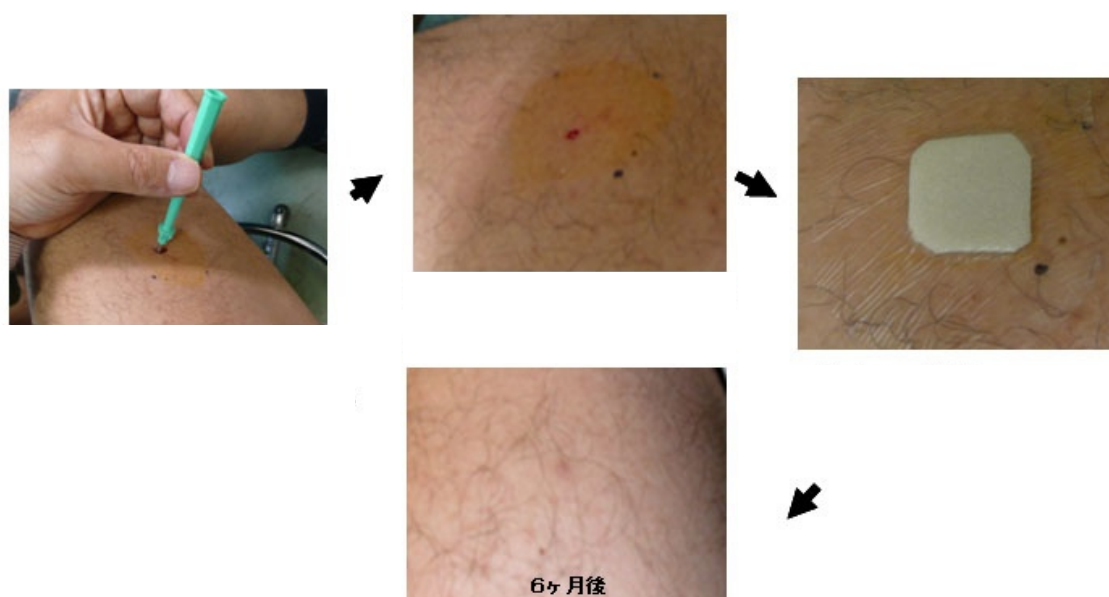
人工多能性幹細胞(iPS細胞)は、少量の皮膚より得られた皮膚線維芽細胞の培養を行い、その後、4つの分子(Sox2, KLF4, Oct4, Myc)を加えることで、作ることができます。iPS細胞からは、試験管内でさまざまな細胞を作り出すことができ、それらを使って研究を行うことで病気の発症機序などを明らかし、さらに治療法の開発につながる研究へと発展させる可能性があると考えられます。

## (2) 研究参加の同意の任意性と同意後の撤回の自由

臨床研究にご協力いただけるかはお本人の自由です。本研究に参加されない場合でも、患者さんが診療、治療上不利益を被ることはありません。また一旦同意された後でも不利益を受けることなく随時撤回することができます。

## (3) 研究方法、体制

1. 抗凝固剤使用の有無や出血、凝固時間、血小板数を事前に調べます。問題がなければ、直径5mmほどの皮膚を前腕伸側から局所麻酔下に採取します（写真参照）。



2. 研究解析に必要なデータを診療録から提供していただきます。提供をお願いするデータは、患者背景：人種、年齢、性別、疾患名、感染症の有無です。研究データから患者さんを特定できるような情報は保管いたしません。番号などの検体を識別する記号・疾患名・年齢・性別・人種の情報に付加されます。記号への変換は本研究に参加しない群馬大学神経生理学の教員が行います。

3. 採取皮膚を熊本大学発生医学研究所に送付し、iPS細胞を作成します。

4. iPS細胞から神経細胞を作成します。

5. その神経細胞を使って、異常凝集体など、病気の性質を調べます。

6. 研究体制としては、神経内科医師が患者さんへの説明、同意書取得を行います。皮膚科医師が皮膚生検を行います。iPS細胞作成は共同研究者の熊本大学発生医学研究所幹細胞誘導分野の研究者が行います。iPS細胞を使った実験、解析、論文執筆は主に神経生理学所属の研究者が行います。研究期間は承認日から平成26年12月31日までを予定しています。しかし、臨床試験審査委員会の承認を得た上で延長されることがあります。

7. 研究計画に参加している研究者以外の研究者から、あなたの組織から作成したiPS細胞を使用したいという申込みがある可能性があります。その場合は、以下の条件が満たされている場合、細胞を供与させて頂きたいと考えています。

- 1) 申込みをした研究者が所属する機関（病院・研究所など）の倫理委員会で審査・承認された研究計画に基づいた申込みであること。
- 2) 研究目的・内容や倫理審査の経緯などに関し、作成に関わった研究者が適切と判断した研究計画であること

#### **（4）試料提供者にもたらされる利益及び不利益**

この研究計画にご協力頂いたことによって、実際の治療に貢献できる成果が得られるかどうかは不確定です。皮膚を前腕伸側から局所麻酔を使い採取することにより、ごくわずかな痛みを伴うことが予想されます。出血傾向のある方、感染し易い方は対象になりません。熟練した皮膚科医師が皮膚生検を行うため感染、出血の危険性は極めて低いのですが、万が一、これらが生じた場合は、止血、抗生剤にて治療します。今までの経験では、採取6か月後の段階で採取部位皮膚に傷痕はほとんど残っていません。

#### **（5）個人情報の保護**

患者さんより得られたデータを本研究以外の目的で利用することはありません。試料には性別、年齢、人種、疾患名が添付されます。個人名は記号に変換されますが、その記号変換は本研究に関わっていない神経生理学の教官（個人識別情報管理者）が行います。したがって、この個人識別情報管理者以外の者にはどの患者さんから作成した細胞であるかわからないようにしてあります。本研究の成果を学会や論文にて発表する場合がありますが、個人を特定しうる内容の発表にはなりません。

#### **（6）検査結果の通知**

研究成果について、提供患者さんからお問い合わせがある場合には、研究者

が上記個人識別情報管理者より患者さんの個人情報を入力し、研究の独創性の確保に支障を来さない範囲内でお知らせすることが可能な状態にしております。この情報について知ることが可能なのは、群馬大学大学院医学系研究科、熊本大学発生医学研究所所属の研究者に限ります。

#### **( 7 ) 研究結果の公表**

研究の成果は、患者さん本人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、学会や学術雑誌およびデータベース上で公に発表される場合があります。

#### **( 8 ) 研究から生ずる知的所有権**

特許等の知的所有権が生じた場合は、研究者あるいは研究機関がその知的所有権を持つことになります。

#### **( 9 ) 本臨床研究が終わった後の検体**

群馬大学においては検体は将来の医学研究のための貴重な資源として、研究終了後15年間厳重に保管させていただきます。研究終了後15年経過したら個人識別情報管理者は患者さんの個人情報を破棄し、検体も破棄します。将来、そのデータおよび細胞を別の医学研究に用いる場合には、改めてその研究について群馬大学医学部附属病院臨床試験審査委員会に申請し、承認を受けた上で実施します。

厚生労働省難治性疾患克服研究事業の難病研究資源バンク開発研究と連携し、患者様の同意が得られれば、脊髄小脳変性症iPS細胞は熊本大学発生医学研究所および理化学研究所・バイオリソースセンター細胞材料開発室、医薬基盤研究所難病疾患資源研究部のバンクに保管します。バンクに提供する情報は、疾患名、性別、年齢、人種です。iPS細胞はバンクで永久保存されます。バンクから要請のあった研究者に細胞が譲渡される際、患者さんの個人情報の追跡が不可能となります。

#### **( 10 ) 研究用の検査の費用**

本臨床研究にかかる患者さんの費用負担はありません。

#### **( 11 ) 利益相反**

本研究の利害関係については、群馬大学利益相反マネジメント委員会の承認を得ております。また、当該研究経過を定期的に群馬大学利益相反マネジメント委員会へ報告等を行うことにより、本研究の利害関係についての公平性を保

ちます。

**( 1 2 ) 皮膚採取医療機関**

群馬大学附属病院神経内科( 担当 池田将樹、牧岡幸樹 電話027-220-8538 )

群馬大学附属病院皮膚科( 担当 茂木精一郎 電話027-220-8290 )

**( 1 3 ) 問い合わせ先**

研究代表者 群馬大学大学院医学系研究科 平井 宏和 電話027-220-7930

責任医師 群馬大学附属病院神経内科 池田将樹 電話027-220-8538

これらの内容をよくお読みになりご理解いただいた上で、この研究に参加することを同意される場合には別紙の同意書に自筆署名と日付を記入し、担当医師にお渡しください。

平成 年 月 日

説明医師署名

# 同意書

責任医師：脳神経内科学 池田将樹 殿  
研究課題名：脊髄小脳変性症患者神経細胞凝集体伝播の解析

説明を受け理解した項目

( ) の中にレ印を入れて下さい)

研究協力を自らの意思で行うことと撤回の自由があること

研究の概要

研究に参加した場合に考えられる利益及び不利益

個人情報保護

研究結果の通知

研究結果の公表

研究成果から生ずる知的財産権について

研究終了後の検体の保管

研究の費用

利益相反

問い合わせ・苦情の受付先

( 1 ) この研究に参加することに同意しますか？

はい いいえ (「はい」または「いいえ」に ) を付けて下さい)

( 2 ) あなたの検体が将来の他研究機関での医学研究に使用されることに同意しますか？

はい いいえ (「はい」または「いいえ」に ) を付けて下さい)

( 3 ) あなた由来のiPS細胞がバンクに登録されることに同意しますか？

はい いいえ (「はい」または「いいえ」に ) を付けて下さい)

平成 年 月 日  
本人署名又は記名、押印：  
住所：  
連絡先(電話など)：

平成 年 月 日  
代諾者署名又は記名、押印、代諾者と本人との関係：  
住所：  
連絡先(電話番号など)：

平成 年 月 日  
説明者署名又は記名、押印：  
住所：  
連絡先(電話など)

研究代表者 群馬大学大学院医学系研究科 平井宏和 電話027-220-7930  
責任医師 群馬大学附属病院脳神経内科 池田将樹 電話027-220-8538

# 説明書

代諾者様用(病理解剖)

臨床研究課題名

脊髄小脳変性症患者神経細胞凝集体伝播の解析

## (1) 研究への参加をお願いする理由

遺伝性脊髄小脳変性症は主に常染色体優性遺伝形式を示し、1-2万人に1人の割合で発症します。全ての病型に対して現在までのところ有効な治療法は確立されていません。治療法開発には病態解明が必要不可欠であり、これまでに脊髄小脳変性症モデルマウスを用いた研究から、病気の原因たんぱく質の作用が調べられてきています。また、脊髄小脳変性症モデルマウスに有効な治療法も開発されてきています。したがって、脊髄小脳変性症の患者さんの病態を調べる次のステップとして、脊髄小脳変性症モデルマウスで同定された病気の原因たんぱく質の動態を脊髄小脳変性症患者さんの脳で調べる事が必要です。以上の目的から脊髄小脳変性症の患者さんの病理解剖脳検体を本臨床研究に使用させていただきたいと思っております。本研究計画は群馬大学医学部附属病院臨床試験審査委員会で審査され群馬大学医学部附属病院長により承認されたものです。

## (2) 研究参加の同意の任意性と同意後の撤回の自由

臨床研究にご協力いただけるかはご本人の自由です。また一旦同意された後でも随時撤回することができます。

## (3) 研究方法、体制

1、脳組織を使って、異常凝集体など、病気の性質を調べます。

2、研究は神経生理学、病態病理学、脳神経内科学、皮膚科学所属の研究者が行います。研究期間は承認日から平成26年12月31日までを予定しています。しかし、臨床試験審査委員会の承認を得た上で延長されることがあります。

3、研究計画に参加している研究者以外の研究者から、脳組織を使用したいという申込みがある可能性があります。その場合は、以下の条件が満たされている場合、細胞を供与させて頂きたいと考えています。

1) 申込みをした研究者が所属する機関(病院・研究所など)の倫理委員会で審査・承認された研究計画に基づいた申込みであること。

2) 研究目的・内容や倫理審査の経緯などに関し、作成に関わった研究者が適切と判断した研究計画であること

#### **(4) 試料提供者にもたらされる利益及び不利益**

この研究計画にご協力頂いたことによって、ご家族に利益、不利益は生じません。

#### **(5) 個人情報の保護**

患者さんより得られたデータを本研究以外の目的で利用することはありません。試料には性別、年齢、人種、疾患名が添付されます。個人名は記号に変換されますが、その記号変換は本研究に関わっていない神経生理学の教官(個人識別情報管理者)が行います。したがって、この個人識別情報管理者以外の者にはどの患者さんから作成した細胞であるかわからないようにしてあります。本研究の成果を学会や論文にて発表する場合がありますが、個人を特定しうる内容の発表にはなりません。

#### **(6) 検査結果の通知**

研究成果について、ご家族からお問い合わせがある場合には、研究者が上記個人識別情報管理者より患者さんの個人情報を入手し、研究の独創性の確保に支障を来さない範囲内でお知らせすることが可能な状態にしております。この情報について知ることが可能なのは、群馬大学大学院医学系研究科、熊本大学発生医学研究所所属の研究者に限ります。

#### **(7) 研究結果の公表**

研究の成果は、患者さん本人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、学会や学術雑誌およびデータベース上で公に発表される場合があります。

#### **(8) 研究から生ずる知的所有権**

特許等の知的所有権が生じた場合は、研究者あるいは研究機関がその知的所有権を持つこととなります。

#### **(9) 本臨床研究が終わった後の検体**

検体は将来の医学研究のための貴重な資源として、研究終了後も厳重に保管させていただきます。将来、そのデータおよび細胞を別の医学研究に用いる場合には、改めてその研究について群馬大学医学部附属病院臨床試験審査委員会



に申請し、承認を受けた上で実施します。

**(10) 研究用の検査の費用**

本臨床研究にかかるご家族の費用負担はありません。

**(11) 利益相反**

本研究の利害関係については、群馬大学利益相反マネジメント委員会の承認を得ております。また、当該研究経過を定期的に群馬大学利益相反マネジメント委員会へ報告等を行うことにより、本研究の利害関係についての公平性を保ちます。

**(12) 問い合わせ先**

研究代表者 群馬大学大学院医学系研究科 平井 宏和 電話027-220-7930

これらの内容をよくお読みになりご理解いただいた上で、この研究に参加することを同意される場合には別紙の同意書に自筆署名と日付を記入し、担当医師にお渡しください。

平成 年 月 日

説明医師署名

# 同意書

研究代表者：神経生理学 平井宏和 殿  
研究課題名：脊髄小脳変性症患者神経細胞凝集体伝播の解析

説明を受け理解した項目

( ) の中にレ印を入れて下さい)

研究協力を自らの意思で行うことと撤回の自由があること

研究の概要

研究に参加した場合に考えられる利益及び不利益

個人情報保護

研究結果の通知

研究結果の公表

研究成果から生ずる知的財産権について

研究終了後の検体の保管

研究の費用

利益相反

問い合わせ・苦情の受付先

( 1 ) この研究に参加することに同意しますか？

はい いいえ (「はい」または「いいえ」に ) を付けて下さい)

( 2 ) 検体が将来の他研究機関での医学研究に使用されることに同意しますか？

はい いいえ (「はい」または「いいえ」に ) を付けて下さい)

平成 年 月 日

代諾者署名又は記名、押印、代諾者と本人との関係：

住所：

連絡先（電話番号など）：

平成 年 月 日

説明者署名又は記名、押印：

住所：

連絡先（電話など）

研究代表者 群馬大学大学院医学系研究科 平井宏和 電話027-220-7930