

## 研究名： 「難治性脈管奇形に対するシロリムスの効果に関する研究」

### 1. 研究の目的

近年、難治性脈管奇形に対する薬物療法として mTOR 阻害薬であるシロリムスが新たに治療戦略に加わり、用いる施設も増えています。その効果に関する報告は増えてきていますが、開始の時期や血中濃度の管理、治療期間などについて十分なコンセンサスは得られていない状態です。そのため、シロリムスを使用した患者さんの治療経過と薬剤の効果について検討することとしました。

### 2. 研究の方法

- ① 研究対象：当センターにて 2002 年 3 月～2027 年 3 月までに、難治性脈管奇形と診断された方
- ② 研究期間：研究機関の長の実施許可日 ～ 2027 年 3 月 31 日
- ③ 利用又は提供を開始する予定日：2026 年 6 月 1 日
- ④ 研究方法：当センターに難治性脈管奇形のために通院している患者さんの診療記録（電子カルテ）から、研究に用いる情報を収集します。収集したデータに基づき、難治性脈管奇形の種類や部位、症状の改善や病変縮小の有無、薬物の血中濃度と副作用の関係などについて解析します。

### 3. 研究に用いる試料・情報の種類

- ① 属性（性別・年齢など）
- ② 診断（リンパ管奇形、血管奇形など）
- ③ 病変の部位
- ④ 血液検査データ（薬物血中濃度の値を含む）
- ⑤ 内服量
- ⑥ 副作用出現の有無
- ⑦ シロリムス以外の薬物療法の有無
- ⑧ 外科的治療介入の有無
- ⑨ 治療期間
- ⑩ 自覚症状の改善の有無
- ⑪ 画像検査をした場合、その所見
- ⑫ 中断した場合、その理由と時期

#### 4. 個人情報の取り扱い

- 1) 本研究で取り扱う患者さんの個人情報は、氏名およびカルテ番号が含まれます。
- 2) 本研究で取り扱う患者さんの検体や情報は、個人情報をすべて削除し、どなたのものか一切わからない形で使用します。
- 3) 患者さんの個人情報と、個人情報を削除した検体や情報を結びつける資料は、本研究の研究責任者が研究終了まで厳重に管理し、研究の実施に必要な場合のみに参照します。また研究計画書に記載された所定の時点で破棄します。

#### 5. 研究実施機関

国立成育医療研究センター 研究責任者 山岸 徳子

#### 6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、試料・情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としませんので、下記の連絡先までお申出ください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

ただし、申出いただいた時点で研究結果が論文などで公表されていた場合等は、データが削除できないことがあります。

○照会先および研究への利用を拒否する場合の連絡先：

国立成育医療研究センター 外科 山岸 徳子  
住所：〒157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1  
電話：03-3416-0181