

研究名：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機に関する後ろ向き観察研究

1．研究の目的

従来、非典型的溶血性尿毒症症候群（aHUS）の第一選択の治療法は血漿治療とされてきましたが、治療比較した研究は非常に乏しい為、本研究では血漿治療を施行した患者さんの群とエクリズマブ治療を施行した患者さんの群とでその有効性を比較すると同時にそれぞれの患者さんの特性を比較します。発症時 15 歳未満で aHUS と診断された患者さんで 26 週以上の経過観察を受けた患者さんについて各臨床データの有無などの情報を収集し、両群間での比較を行います。

2．研究の方法

研究対象：2011 年 1 月より 2018 年 9 月までに発症した aHUS の患者さん

研究期間：倫理審査委員会承認後～2022 年 3 月 1 日

研究方法：2011 年 1 月より 2018 年 9 月までに発症した aHUS の患者さんについて、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、匿名化（だれの情報が直ちに判別できない状態）し、大阪医科大学（責任者：芦田明）へパスワードをかけて送信します。大阪医科大学では、患者さんの特性とともに各治療の有効性について検討します。また調査結果を統計学的に解析し、両側優位水準を 0.05 で実施します。

3．研究に用いる情報の種類

対象となる aHUS の患者さんの背景、血液検査データ、尿検査データ、再発の有無や治療変更の有無など臨床経過データ。

患者さんの氏名など、本人を特定出来る一切の個人情報とは調査対象ではなく、個人情報は保守されます。

4．情報の公表

結果は学術雑誌や学会などで公表されますが、その際個人を特定できる情報は一切公表されません。

5．研究実施機関

国立成育医療研究センター（責任者：亀井宏一）
大阪医科大学（責任者：芦田明）
その他全国 75 施設

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、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、2020年3月1日までに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。

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 腎臓リウマチ膠原病科 亀井 宏一
住所：東京都世田谷区大蔵 2-10-1
電話：03-3416-0181（内線：7467）

研究責任者：

国立成育医療研究センター 腎臓リウマチ膠原病科 亀井 宏一