

プロピオン酸血症の患者さまへ

新しいお薬（点滴(静脈注射)）の治験にご参加いただける患者さまを募集しています

治験とは

開発中のお薬の効果と安全性を検討するための臨床試験です

対象疾患 プロピオン酸血症

アミノ酸の代謝に必要な酵素が生まれつきうまく働かないため、有機酸と呼ばれる物質が体にたまり、さまざまな障害を引き起こす有機酸代謝異常症です

ご参加いただける方

1. プロピオン酸血症と診断されている
2. 出生時の在胎期間が37週以上
3. 1歳未満
4. 体重が3kg以上
5. 少なくとも1回のプロピオン酸血症関連の悪化症状がある
6. 臓器移植歴がない

その他いくつかの参加基準があります。
詳しくは下記連絡先までお気軽にお問い合わせ下さい。

参加募集予定期間

2027年9月30日まで

この治験について

肝移植に代わる新しい選択肢として、繰り返し投与することで症状を安定させることを目指す、mRNAを使ったお薬の試験です。12カ月間、点滴（静脈注射）のお薬を2週間ごとに投与します。治験参加中は、お薬の投与だけでなく、安全性・有効性などを評価するためにさまざまな検査を受けていただきます。



**連絡先： 国立研究開発法人 国立成育医療研究センター
臨床研究コーディネートユニット**

TEL： 03-5494-7120(内線:5371)

<受付時間：9時～17時 土日祝除く>