

研究名：難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群患者に対する リツキシマブ投与に関するコホート研究

1．研究の目的

ネフローゼ症候群は大量の蛋白尿が出現し低アルブミン血症、全身性浮腫、腎機能低下をきたす疾患です。小児特発性ネフローゼ症候群の 1～3%はステロイド治療で寛解しないステロイド抵抗性ネフローゼ症候群(SRNS)と診断された後、シクロスポリンやステロイドパルス(MPT)などの標準的な免疫抑制薬治療でも完全寛解せず、難治性 SRNS となり腎不全に進行する可能性があります。本研究の目的は難治性 SRNS に対してリツキシマブ(RTX)投与を行なった患者さんの 1 年以内の寛解率、末期腎不全となる割合、長期的な有害事象などを、MPT の併用や免疫抑制薬の種類ごとに明らかにすることです。現在 SRNS に対する RTX の投与は保険外適応ですが、その有効性を示すことができれば末期腎不全への進行を抑制できる可能性があります。

2．研究の方法

研究対象：国立成育医療研究センター、横浜市立大学附属市民総合医療センター、北里大学病院、東京都立小児総合医療センター、埼玉県立小児医療センターにおいて以下の選択基準を満たし、除外基準のいずれも満たさない患者さん。

選択基準：

- (1)18 歳未満で発症した小児特発性ネフローゼ症候群患者さん
- (2)難治性 SRNS の患者さんで 2006 年 1 月 1 日～2020 年 ~~12~~7 月 31 日までに寛解導入のため RTX を投与した患者さん

除外基準：

- (1)SRNS の原因が単一遺伝子異常であった患者さん
- (2)本研究に対して不参加の意思を示した患者さん

研究期間：倫理審査委員会承認後～2023 年 3 月 31 日

研究方法：上記の患者さんの診療情報（3.研究に用いる情報の種類欄参照）を匿名化(誰の情報か直ちに判別できない)して、調査票に記載し、主たる施設である国立成育医療研究センター（研究責任者：横田俊介）にパスワードを付与してメールで送付します。主たる施設では協力施設より収集した情報を集計し解析します。

3．研究に用いる情報の種類

対象となる難治性 SRNS の患者基本情報（発症年齢、性別、臨床経過、検査結果等）治療、予後、有害事象等。

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・研究協力施設

国立成育医療研究センター（責任者：横田俊介）
横浜市立大学附属市民総合医療センター(責任者：稲葉彩)
北里大学病院(責任者：石倉健司)
東京都立小児総合医療センター(責任者：濱田陸)
埼玉県立小児医療センター(責任者：藤永周一郎)

6 . お問合せ先

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ないので、2021年11月31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。研究が開始されてからも参加の拒否をすることは可能ですが、1度統計解析が終了し、研究成果を学会や論文で公表された後はデータを削除することはできませんのでご了承下さい。

○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 横田 俊介
住所：東京都世田谷区大蔵 2-10-1
電話：03-3416-0181（内線：7837）

○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 横田 俊介