

## 患者様ならびにご家族の方へ

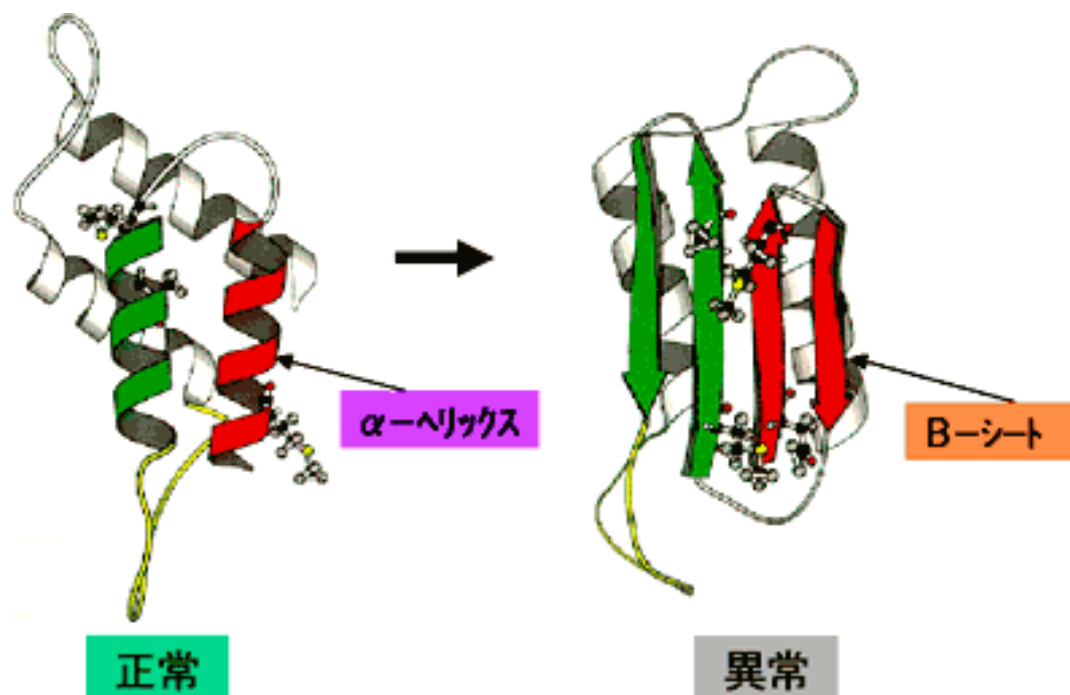
－ はじめに －

### ★プリオンとプリオン病★

健康な人の脳や、その他の部位に多く存在する蛋白質のひとつが、なんらかのきっかけによって形や性質を変えて、脳に蓄積するなどして、脳の働きが失われていく病気があります。

以前は、脳などが何かの病原体に感染してそのような状態になると考えられていましたが、長い研究を経て、その病気を引き起こすもの（感染因子）が蛋白質であることが突き止められて「プリオン」と呼ばれています。この「プリオン」が脳を障害する病気を「プリオン病」と呼んでいます。

形を変える前の正常プリオン蛋白質が人や動物の体の中でどんな役割や働きを持っているかについては、現在のところまだよくわかっていませんが、下の図の左側の図のように、正常プリオン蛋白質では、らせん型の構造をしていることがわかっています。それがなんらかのきっかけで、下の図の右側の図のようなシート型の構造に形を変え、大変分解されにくい異常プリオン蛋白質となって、脳などを障害することがわかっています。



シート型に形を変えた異常プリオン蛋白質は、隣接する蛋白質を同じ形に変えていく力をもっていることがわかっています。このことを「伝播」といいます。この伝播によって、増えていった異常プリオン蛋白質が脳を障害するのです。

プリオン病は、牛や羊、鹿、猫、ラクダなどの動物にもみられる病気です。人のプリオン病としては、クロイツフェルト・ヤコブ病、遺伝子の異常が報告されているゲルストマン・スト

ロイスラー・シャインカー病、クールーといった病気が知られていますが、いずれも、現在のところ治療法や予防法は見つかっていません。

### ★プリオン病に関する研究★

プリオン病の原因が、異常プリオン蛋白質だということが解明されてから、30年近くたちました。

現在のところは、まだ有効性が証明された治療法などはありませんが、医学は日々進歩しており、研究は進んでいます。

将来、薬や治療法を開発する際に、そのお薬や治療法によって病状が改善したり、病気の進行が遅くなっていたりしているのかどうかを判断するためには、そもそも自然な病気の進行がどのようなかを調べる必要があります。つまり、この病気の治療法や予防法を開発するためには、まずこの病気にかかった患者さんの状態の時間経過を知る必要があるのです。こういった調査を自然歴調査と言います。

このプリオン病の自然歴に関する全国調査研究を実施することによって、お薬や治療法の候補となるものが見つかった際に、それが実際に病気の治療に役立つかどうかを評価することが可能になります。

プリオン病は1年間の罹患者が250名くらいという非常にまれな疾患です。今回、プリオン病といわれている患者の皆様にご協力をお願いし、少しでも多くの病気に関する情報を集めるため、病状の推移を医師による診察や、電話によるインタビューなどによって調査させていただきたく、皆様のご協力をお願いいたします。

# プリオン病のサーベイランスおよび自然歴に関する全国調査研究 —第1研究（プリオン病サーベイランス研究（実地調査）—

## □1-1. 研究の概要

研究題名：「プリオン病のサーベイランスおよび自然歴に関する全国調査研究  
—第1研究（プリオン病サーベイランス研究）—」

承認番号：第AA2014-014番

事業の種別：厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業

研究班の名称：「プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究」班  
同 プリオン病サーベイランス委員会

研究責任者：水澤英洋（国立精神・神経医療研究センター病院 理事長・総長）

実施責任者：塚本 忠（国立精神・神経医療研究センター病院 脳神経内科医長）

事務局：〒187-8551 東京都小平市小川東町4-1-1

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター病院

## □2-1. 研究期間：倫理審査承認後から2024年3月31日まで

（継続申請承認後、5年経過後時に再度申請し、承認を得る。）

## □3-1. 研究の目的について

クロイツフェルト・ヤコブ病（以下CJDと略します）やその類縁の疾患は進行性の神経系の難病で、近年、ウシ海綿状脳症（BSE）罹患牛からの感染が考えられる新しいタイプのCJD（変異型CJDと呼ばれます）が発生するなど大きな社会問題となっております。プリオン病は、大変まれな疾患であり、現在のところ、有効性が証明された治療法はありません。また、これらの疾患の発病のメカニズム、予防策、治療法なども、未だ解明されておりせん。

そこで、疾患の発生動向を明らかにし、感染予防、新しい診断法、有効な治療法の開発などに役立てることを目的として、このサーベイランス調査を実施します。

## □4-1. 研究の方法について

WHOや厚生労働省の「プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究班」の診断基準で可能性がある（possible）、確からしい（probable）と診断された患者さんのうち、本研究への参加に同意した患者さんを対象とします。性別は問わず、20歳以上の患者さんを対象とします。

平成11年度に発足したCJDサーベイランス委員会では、全国を10の地域ブロックに区分し、それぞれにサーベイランス委員をおき、更に全都道府県にて委嘱されたCJD担当専門医の協力も得て、直接患者さんの病状を調査します。

調査は、患者さんから都道府県に提出された臨床調査個人票および髄液検査・遺伝子検査依頼時に検査施設（長崎大学・東北大学等）に提出された検査依頼票に基づき、CJDに罹患されている患者様（およびその代諾者様）のご同意を得て実施します。

# プリオン病のサーベイランスおよび自然歴に関する全国調査研究

## —第2研究（JACOP 自然歴調査研究）—

### □1-2. 研究の概要

研究題名：「プリオン病のサーベイランスおよび自然歴に関する全国調査研究  
—第2研究（JACOP 自然歴調査研究）—」

承認番号：第 A2014-137 番

研究団体名称：プリオン病の臨床研究に関する全国コンソーシアム  
(Japanese Consortium of Prion Disease : JACOP)

研究責任者：水澤英洋（国立精神・神経医療研究センター病院 理事長・総長）

実施責任者：塚本 忠（国立精神・神経医療研究センター病院 神経内科医長）

事務局：〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター病院

### □2-2. 研究期間：倫理審査承認後から2024年3月31日まで

（継続申請承認後、5年経過後時に再度申請し、承認を得る。）

### □3-2. 研究の目的について

プリオン病は、大変まれな疾患であり、現在のところ、有効性が証明された治療法はありません。

将来、この病気に対する治療法を開発するためには、その治療法の候補となったお薬等が有効であるかどうかを比較検討するために、そもそもこの病気が自然の経過でどのように進行していくのかを知り、少しでも多くの病気に関する情報を集める必要があります。

そこで、この病気に罹られた方の体の機能等が、時間の経過とともにどのように変容していくかを診察させていただき、患者さんを看護されているご家族の方などから状況をお聞かせいただきたいと考え、この調査研究をさせていただきます。

### □4-2. 研究の方法について

WHO や厚生労働省の「プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究班」の診断基準で可能性がある（possible）、確からしい（probable）と診断された患者さんのうち、本研究への参加に同意した患者さんを対象とします。性別は問わず、20歳以上の患者さんを対象とします。

この調査研究の対象となる患者さんには、月に一度、医師による診察または調査員による電話調査を受けていただきます（電話調査は、患者さんが回答できない病状の場合には、介護者や代諾者の方にお答えいただきます）。

それ以外にはこの研究のために特に何かをお願いするということはありません。通常の診察の中で行われる検査の結果などを参考にさせていただきます。

また収集されたデータは、個人情報とは切り離されて国立精神・神経医療研究センター内で厳重に管理されます。(データには、患者さんの氏名や住所などの個人情報は、含まれておりません。)

提供していただいたデータを他の研究目的で利用させていただく場合には、新たに倫理審査を申請し、承認後に利用します。

#### □5. 研究への参加の任意性とその同意の撤回について

この調査研究に参加していただくかどうかは、患者さんもしくはその代理の方の自由意思によって決定して下さい。

「同意書」に署名をしていただくことで、この調査研究への参加や、同意書に記載の事項に同意されたものとみなされます。

また、一旦研究への参加を同意されたとしても、その意思はその後いつでも撤回できます。研究参加に同意されなかったり、一旦なされた同意を撤回したりしても、患者さんが不利益をこうむることはありません。

患者さんの同意がいただけない場合に、調査研究が開始されることはありませんし、一旦なされた同意が撤回された場合には調査はただちに中止されます。

この調査は治験、すなわち新しいお薬を開発するために安全性や有効性を調べる研究とは直接の関係はありません。しかし、治験には病気のタイプなど様々な条件がありますので、本研究で登録された患者さんの中から条件の合った方をお願いすることになります。

また、プリオン病は患者さんが少ないため、この研究で得られる病気の自然経過のデータは、将来、治験を行ったときにお薬の効果を判定するために比較する基準として必須の情報となると思われます。

つまり、この調査研究はいわゆる治験とは直接の関係はありませんが、将来の治験のためには必須の研究となります。

#### □6. 予想される利益、危険性および不利益について

この調査研究は、患者さんの病歴や病状の情報をお伺いするだけの研究で、薬を飲んでいただいたりはしませんので、患者さん自身への危険性はありません。しかし、電話による聞き取りや診療に必要な時間がかかることをご了承ください。

#### □7. 個人情報の保護について

この研究では、患者さんの氏名は、診察を行う施設においてイニシャルにされ、住所などの個人情報と切り離されこの研究独自に配番される識別番号によって管理されます。

識別番号は必要が生じた場合には、患者さんの診察を行う施設において個人情報と連結できるように管理されています。患者さんと識別番号を結びつける対応表は、本センター個人情報管理者（TMC センター長 小牧宏文）の管理の下で、研究責任者が厳重に管理し、個人情報の漏洩を防止します。ただし、解析結果について患者さんに説明する場合など、個人の情報を特定の個人に結び付けなければならない場合には、本学個人情報管理者の管理の下でこの識別番号を元の氏名に戻す作業を行い、結果を患者さんにお知らせすることが可能になります。

自然歴調査では調査員による電話調査のために、「電話連絡先の提供に関する同意文書」に署名をしていただくことで、電話調査の連絡先を指定していただきます。提供いただいた連絡先は、国立精神・神経医療研究センター内で厳重に管理されます。電話調査のみに使用され、他の目的に使用されることはありません。

□8. 研究結果の公表について

サーベイランス調査研究は、プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究班のHP、<http://prion.umin.jp/survey/index.html> 上に公表されます。

JACOP 自然歴調査全国調査研究は、プリオン病の臨床試験に関する全国コンソーシアムである JACOP (Japanese Consortium of Prion Disease) という組織と協力して行われます。この調査研究で得られた研究結果は、研究全体の結果として JACOP のHP (<http://jacop.umin.jp/index.html>) 上で公表されます。

また、得られたデータは、将来の医師主導治験に活用する予定です。

調査研究にご協力をくださった患者さん個人についての研究結果は、この調査研究からは、お知らせすることはありません。研究結果や研究に関連した検査などの結果について知りたい場合には、主治医の先生と相談してください。

研究の結果が公表される際には、患者さんの情報はこの研究における個人識別番号または全体としての比率として扱われるため、個人を特定する情報として公表されることはありません。

□9. 研究結果の開示について

研究結果を患者さんが望まれる場合には、直接説明いたします。

□10. 知的財産権について

この研究の成果に基づいて、特許権などの知的財産権が生じる可能性もありますが、その権利は、「プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究」班、同 プリオン病サーベイランス委員会および JACOP に帰属し、患者さんご本人には帰属しません。

□11. 費用について

この研究に参加することにより発生する患者さんの費用負担は、通常の診療で発生する費用以外には特にありません。

また、謝礼等をお支払いすることはありません。

□12. 利益相反について

本調査研究は、国から交付された科学研究費補助金等により、本施設の研究責任者および JACOP のもとで公正に行われます。本調査研究は、倫理審査委員会の承認を得ており、公正性を保ちます。

## □13. 調査参加の方法

### 1. 主治医の先生の施設からの参加

現在かかっておられる病院が、病院ごとに設置されている倫理審査委員会で、この調査研究に参加することを承認している場合には、調査研究について、先生から説明を受け、参加してください。

### 2. 患者さん自身または代諾者の方による登録

病院が、病院ごとに設置されている倫理審査での研究実施の承認を得ていない場合には、プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究班のHP

(<http://prion.umin.jp/survey/index.html>) もしくは、JACOPのHP

(<http://jacop.umin.jp/>) から、ダウンロードした「患者さんへの説明文書」「同意書」「調査票」などを使って、主治医の先生にご協力いただいて、登録してください。

その場合の具体的な手順は、以下のとおりです。

#### 【患者さんご自身による登録手順】

##### ① プリオン病のサーベイランスと感染予防に関する調査研究班のHP

(<http://prion.umin.jp/survey/index.html>) もしくは、JACOPのHP

(<http://jacop.umin.jp/patient.html>) より、「患者さんへの説明書」、「同意書」、「電話連絡先の提供に関する同意文書※」、「サーベイランス調査票」をダウンロードする。

##### ② 主治医の先生より患者さんへ「患者さんへの説明書」に基づいて、病気について、調査研究について、参加にあたっての説明を行う。

##### ③ 「同意書」「電話連絡先の提供に関する同意文書※」に患者さん（または代諾者の方）、主治医の先生各々の署名を行う。

##### ④ 主治医の先生が、患者さんを診察し、「サーベイランス調査票」の項目に記入する。

「同意書」、「電話連絡先の提供に関する同意文書※」および「調査票」をサーベイランス事務局宛に送付する。

※「電話連絡先の提供に関する同意文書」はサーベイランス研究のみに参加される場合は使用しません。自然歴調査にもご参加いただける場合に使用してください。

□ 説 明 者：国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

(施設名： \_\_\_\_\_)

※NCNP 以外の施設で IC 実施した場合

診療科名： \_\_\_\_\_

職 名： \_\_\_\_\_

氏 名 (自署)： \_\_\_\_\_

電話番号： \_\_\_\_\_ - \_\_\_\_\_ - \_\_\_\_\_ (内線： \_\_\_\_\_)

□ 研究責任者：国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

職 名： 理事長・総長

氏 名： 水澤 英洋

□ サーベイランス研究および JACOP 自然歴調査研究についてのお問い合わせ：

① 国立精神・神経医療研究センター病院

脳神経内科医長 塚本 忠

〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1

042-341-2712 (内線) 3315

(対応可能時間帯：平日 9:00~17:00)

② サーベイランス研究および JACOP 自然歴調査 事務局

042-341-2712 (内線) 3131 または 3133

(対応可能時間帯：平日 9:00~17:00)