

研究代表者 聖マリアンナ医科大学 難病治療研究センター 病因・病態解析部門 山野 嘉久
対象疾患： HTLV-1 関連脊髄症（HAM）
研究課題名： HAM 患者レジストリ「HAM ねっと」を活用した病態解明および治療法・予防法の開発に関する研究
研究の目的： HAM 患者の試料・情報（臨床情報および生体試料）を収集し、持続的、長期的な評価を行うことで、HAM の病態や自然歴、予後因子、治療の影響等を解明し、将来的に HAM の新しい治療法の開発に活用することを目的とする。
研究期間： 研究全体の実施期間：聖マリアンナ医科大学 学長または各共同研究機関の長の許可を受けた日～永年 被登録者の参加期間：患者登録後～永年 但し、5 年ごとに研究内容を見直すため、今回の申請は 5 年間とする。
研究デザイン： 多施設共同レジストリ研究（前向き、後ろ向き、横断的）
選択・除外基準： 【選択基準】 1) HAM と診断された患者（年齢、性別、病期等は問わない）もしくは HAM の疑いがある患者 2) 文書による同意が得られた患者 【除外基準】 研究代表者または担当医師により対象として不適格と判断された患者
目標症例数： 希少疾患であるため、例数制限は設けず可能な限り登録する
試料・情報の収集方法： 1) 被登録者候補の研究への参加意向 被登録者候補は、担当医師に本研究への参加の意向を伝える。 2) 被登録者候補からのインフォームド・コンセント（生体試料の提供）の取得 担当医師は、同意説明文書・同意書（生体試料の提供）を用いて、被登録者候補または代諾者から文書による同意（生体試料の提供）を得る。 3) 被登録者からの試料・情報（生体試料）の収集 担当医師は、被登録者から試料・情報（生体試料）を収集し、調査票（医師記入）へ記入する。 4) 試料・情報の送付 担当医師は、調査票（医師記入）および同意書の写し（生体試料の提供）を研究代表機関へ送付する。 5) 試料・情報（生体試料）の送付 担当医師は、被登録者から収集した試料・情報（生体試料）を ID 化した状態で、直接もしくは検査会社

を介して研究代表機関へ送付する。検査会社は、検査結果を共同研究機関および研究代表機関に報告するとともに、生体試料を研究代表機関に送付する。研究代表機関は検査結果を共同研究機関に報告する。

6) 被登録者への書類の提供

研究代表者は、被登録者または代諾者に同意説明文書・同意書（臨床情報の提供）および登録票（患者記入）を送付する。

7) 被登録者からのインフォームド・コンセント（臨床情報の提供）の取得

研究代表者は、同意説明文書・同意書（臨床情報の提供）を用いて、被登録者または代諾者から文書による同意（臨床情報の提供）を得る。

8) 被登録者からの書類の返送

被登録者または代諾者は、署名済の同意書（臨床情報の提供）および登録票（患者記入）を研究代表者へ送付する。

9) 被登録者の登録

研究代表者は、被登録者が本研究への登録に問題がないことを確認し、本研究へ登録する。登録した被登録者の研究参加期間は、登録後から永年とする。

なお、本研究への登録は、生体試料の提供または臨床情報の提供どちらか一方の同意のみでも可能とする。

10) 被登録者からの試料・情報（臨床情報）の収集

研究代表者もしくは研究代表者から指名、教育を受けた研究事務局に所属する看護師、CRC 等の医療知識を有する研究者等（以下、「キュレーター」という。）は、被登録者およびその関係者等から被登録者の試料・情報（臨床情報）を収集し、調査票（研究事務局記入）へ記載する。

また、被登録者は、可能な場合に限り、臨床調査個人票の写しを研究代表者へ送付する。

主要評価項目：

- 1) 重症度分類（納の運動障害重症度（OMDS））の Score 6 に到達するまでの期間

副次評価項目：

- 1) OMDS の推移
- 2) 死亡の有無および死亡の場合の死因、死亡率の推定
- 3) EQ-5D-5L スコアの推移
- 4) 登録患者背景情報の記述統計
- 5) 治療法別の予後との相関
- 6) 診断時あるいは治療前の末梢血 HTLV-1 プロウイルス量、髄液ネオプテリン、CXCL10、細胞数、抗 HTLV-1 抗体価と予後との相関
- 7) 排尿障害重症度の推移
- 8) 合併症、併存症の有病率、罹患率