

クロウ・深瀬症候群の症例登録システム
初回登録用書類セット

登録用書類をダウンロードしていただき、ありがとうございます

~~~~~セット内容~~~~~

1. 初回登録の手順
2. 説明・同意文書（患者さん用）
3. 登録用紙
4. 説明・同意文書（担当医用）

~~~~~

初回登録の手順

【手 順】

1. 説明・同意文書（患者さん用）をよくお読みください。
2. 患者登録システムへのご登録を希望される場合には、説明・同意文書（患者さん用）の7-8ページの同意書にチェックとご署名をお願いします。
同意書は同意者保存用と事務局送付用①の2枚があります。
3. 登録用紙の青い枠内に必要事項の記入をお願いします。
4. 定期受診の診察の際に、ご担当の先生に、クロウ・深瀬症候群の患者登録システムへの登録をご希望されていることを、お伝えの上、3.で記入した登録用紙と説明・同意文書（担当医用）をお渡しください。
5. ご担当の先生がご協力してくださる場合は、必要事項を記入してもらった担当医用の同意書（事務局送付用）②、登録用紙③、指定難病個人票のコピー④を担当医から受け取ってください。
6. 1-5までで準備した書類（①-④）に未記入の項目がないか、ご確認ください。特に同意書のチェック項目へのチェックのつけ忘れにご注意ください。
7. 書類（①-④）を事務局に書留でご郵送をお願いします。

【ご送付いただく書類（計4点）】

- ①同意文書（患者さん用）：チェック項目へのチェックの漏れ、署名の漏れがないかご確認ください。
- ②同意文書（医師用）：チェック項目へのチェックの漏れ、署名の漏れがないかご確認ください。
- ③登録票：患者さん・医師の欄が漏れなく記入済みかご確認ください。
- ④指定難病個人票のコピー

【ご送付いただく宛先】

〒260-8670

千葉県千葉市中央区亥鼻-8-1 千葉大学医学部 脳神経内科
クロウ・フカセ症候群症例登録システム 桑原 聡 行

「 クロウ・フカセ（POEMS）症候群の患者登録システムの構築 」の説明書

本文書は、あなたに研究内容、同意に関する事柄などについて説明したものです。この研究は千葉大学大学院医学研究院の倫理審査委員会で、人権擁護の面を含めその倫理性について検討を受け承認されております。この文書をよく理解した上であなたが研究に同意していただける場合には、「同意書」にご署名をお願いいたします。もちろん、同意いただけないからといって、そのことによりあなたが不利益をこうむることは一切ありません。

なお、下の文書の中で、わかりづらい点、もっと説明して欲しいことがありましたら、遠慮なく事務局まで質問してください。

（１）研究の目的および意義

クロウ・フカセ（POEMS）症候群は骨髄の中にある形質細胞という細胞の異常によっておこる病気です。正常な状態では、形質細胞は免疫グロブリンと呼ばれるタンパク質を産生し、ウイルスや細菌といった外敵から体を守る働きをしています。ところが、異常な形質細胞は数が増えるとともに、異常なたんぱく質（血管内皮増殖因子、M 蛋白）が産生されます。それと関連して、手足のしびれや脱力（多発神経障害）、手足のむくみ、胸やお腹への水のたまり（胸水・腹水）、肝臓や脾臓のむくみ（臓器腫大）、色素沈着、毛深さ（皮膚変化）などいろいろな症状が出てきます。

この病気は有効な治療が行われない場合には命に関わることがわかっていますが、患者さんの数が少なく、まだ十分に治療法が確立されているとは言えません。これまでの報告では、適切な治療を行わない場合には、患者さんの平均余命は約 2-3 年であるとされています。

クロウ・深瀬症候群では、多発性骨髄腫とよばれる他のご病気の治療が有効であると考えられ、多くの患者さんに試みられています。多発性骨髄腫の治療は、急速に進歩しつつあり、今後も、クロウ・深瀬症候群への応用がさらに進むと考えられます。

新しい治療を、ご病気に本当に合った形に進歩させていくためには、実際に治療が行われている患者さんの状態や治療効果などのデータを集めて分析することが、とても大切です。それぞれの治療が、どのぐらいの効果が期待できるか、どのような副作用に気をつけるべきかなどがわかれば、患者さんの状態に応じて、ふさわしい治療をえらぶことができるようになります。ところが、今の段階では、そのような情報を一カ所にあつめるシステムはありません。

また、あるお薬がクロウ・深瀬症候群に効果があり安全であると証明され、正式に認められるためには、臨床試験と言う手続きを踏む必要があります。臨床試験とは、新しいお薬を患者さんに実際に使用して、効き目があること、安全性の問題がないことを確かめる方法です。新しい治療を確実にそして迅速に、患者さんの元に届けるためには、臨床試験をできるだけ短期間に行うことが、とても大切です。一般的に、患者さんの数の少ないご病気では、治験にご参加頂ける患者さんを探すことが難しく、臨床試験に非常に時間がかかったり、途中で断念せざるをえなかったりすることが、しばしばあります。

このような、クロウ・深瀬症候群の患者さんを取り巻く課題を解決し、新しい治療と患者さんを結ぶための手段として、登録システムはとても効果があると考えられます。そこで、厚生労働省の支援を受け、このシステムを立ち上げることができました。ヨーロッパを始め、諸外国では、このような患者さんの登録システムづくりがほかのご病気で進んでおり、多くの成果が出ています。患者さんの数の少ないご病気の治療を進歩させるためには、非常に優れた方法の一つです。

この登録システムに全国のクロウ・フカセ症候群の患者さんの情報を継続的に集めることで、様々な治療法について長期的な効果を調べることができるようになります。また、新しい薬の臨床試験が行われる時には、候補になる可能性のある患者さんに臨床試験の情報をいち早くお知らせし、短期間で患者さんを集めることができるようになります。このような取り組みにより、クロウ・フカセ症候群の治療法が進歩することを目指して、この研究は計画されています。

従って本研究は、クロウ・フカセ症候群と診断されている患者さんに、できる限り広くご参加をお願いしたいと考えています。また、患者さんの数が少ないご病気では、病気や治療に関する正しい情報が得られにくく、患者さんやご家族が不安に思われることも少なくありません。そのため、この症例登録システムにご参加してくださった患者さんには、信頼できる新しい情報を、ニュースレターと言う手段で、定期的にお知らせして行きたいと考えています。

(2) 研究の方法

1) 対象となる患者さん

この研究にご参加いただくためには、いくつかの参加基準があります。

- ・クロウ・フカセ症候群の診断のついている患者さん
- ・16歳以上の患者さん
- ・この研究についてご理解とご了承をえられる方

2) 研究の流れ

この研究は、患者さんご自身が症例登録システムにご登録いただくことから始まります。ご登録後は、お体の状態、治療内容について、年に1回の情報更新を事務局から患者さんにお願ひします。事務局から患者さん向けに、定期的なニュースレターの発信と新しい臨床試験/治験のご案内をいたします。また、患者さんからご提供いただいた情報を解析し、現在行われている治療の効果について調べる、新しい治療薬の臨床試験の計画を立てるなどの研究を行います。

以下に詳しくご説明します。

ア. 症例登録システムへの初めてのご登録

(1) 患者さんに症例登録システムホームページ (<http://www.m.chiba-u.ac.jp/dept/neurol/crowe/>) にアクセスして頂き、登録に必要な書類をダウンロードして頂きます。ダウンロードして頂く書類は以下になります。

【ダウンロード頂く書類】

- ・登録票（初回登録時）
 - ・説明・同意文書（患者さん用）
 - ・説明・同意文書（担当医用）
- (2) 患者さん用の説明・同意文書（本書類）をよくお読みください。本研究にご参加頂ける場合には、チェック項目にチェックを入れ、署名をしてください
- (3) 登録票の患者さん自身にご記載頂く欄（青枠の中）に、必要事項をご記入ください。
- (4) 通院している病院の担当医の先生に、本研究へのご参加を希望されていることをお伝えください。説明・同意文書（担当医用）をお渡し頂き、登録票の医師記入欄への記入、指定難病個人票のコピーをご依頼ください。
- (5) 医師のチェック・署名が入った同意書、医師の記入が終了した登録票、指定難病個人票のコピーをお受け取り下さい。
- (6) (2)－(5)で準備した書類一式*を書留で事務局に、送ってください。

【ご送付頂く書類一式*（計4点）】

- ・登録票：患者さん・医師の欄が漏れなく記入済みかご確認ください。
- ・同意文書（患者さん用）：チェック項目へのチェックの漏れ、署名の漏れがないかご確認ください。
- ・同意文書（医師用）：チェック項目へのチェックの漏れ、署名の漏れがないかご確認ください。
- ・指定難病個人票のコピー

【ご送付頂く宛先】

〒260-8670

千葉県千葉市中央区亥鼻8-1 千葉大学医学部 脳神経内科

クドウ・フカセ症候群症例登録システム 桑原 聡

電話：043-226-2129

- (7) 事務局が登録書類を受け取りましたら、受領書を患者さん宛にご送付します。登録書類のご送付後、2週間を過ぎても受領書がお手元に届かない場合は、お手数ですが、事務局にご連絡をください。
- (8) ご送付頂いた登録票と同意書について、ご質問がある場合には、事務局から患者さんまたは事務局から担当医の先生にお問い合わせをさせて頂く場合があります。
- (9) 事務局では、ご送付頂いた書類を適切に保存し管理します。
具体的には、お名前や住所など個人を特定できる情報はインターネットに接続しないパソコン内のデータベースに保存します。お体の状態や治療に関する情報は、個人を特定できる情報は含まない形で、インターネット上のサーバー内のデータベースに保存します。個人を特定できる情報とお体の状態等に関する情報を照合するリスト、署名済みの同意書は千葉大学病院内の鍵のかかる部屋の中でファイリングして保存します。

イ. 年に1回の情報更新について

- (1) 年に1回、その後の状況をお伺いするために、更新用の登録用紙を事務局から患者さん宛にご送付します。その際には、登録票への患者さんご自身の記入、ご担当の先生への記入のご依頼、指定難病個人票のコピーを改めてお願いします。
ご担当の先生が交代になった場合は、説明・同意文書（医師用）へのご記入もお願いします。
- (2) 記入済みの登録票（更新時）等一式**を事務局に書留でご送付をお願いします。

【ご送付頂く書類一式**（計2点。担当医の交代があった場合は、計3点）】

- ・登録票（更新時）：患者さん・医師の欄が漏れなく記入済みかご確認ください。
- ・指定難病個人票のコピー（当該年分）

（担当医の交代があった場合）

- ・同意文書（医師用）：チェック項目へのチェックの漏れ、署名の漏れがないかご確認ください。

【ご送付頂く住所】

〒260-8670

千葉県千葉市中央区亥鼻8-1 千葉大学医学部 脳神経内科

クロー・フカセ症候群症例登録システム 桑原 聡

電話：043-226-2129

- (3) 事務局では、ご送付頂いた書類を上記(9)と同様の手順で適切に保存し管理します。

ウ. 事務局から患者さんへのご案内について

- (1) 事務局から患者さんの元に、ニュースレターを定期的にご送付します。
- (2) 新しい臨床試験/治験の募集がある場合に、事務局から対象となりうる患者さんにご連絡させていただくことがあります。

エ. ご提供いただいた情報の研究への利用について

- (1) 患者さんにご提供いただいた情報は、現在行われている治療の効果の解析や、新しい治療薬の臨床試験/治験の計画に利用されます。
- (2) 解析した内容をまとめて、学会発表や学術論文として公表することがあります。
- (3) 臨床試験/治験の計画に際し、患者さんの数、重症度などの情報を、研究機関や製薬企業に提供することがあります。この際に、個人を特定できる情報を提供することはありません。

3. この研究を実施する期間

この研究は、千葉大学の倫理委員会承認後から\$\$\$年3月までを少なくとも予定しています。その後も、患者さんの登録状況等に応じて、倫理委員会の承認の下、延長する可能性があります。

4. この研究に参加する患者さんの予定人数について

この研究に参加する患者さんは100名を予定しています。

我が国におけるクロー・フカセ症候群の患者さんの数は300-400名と推定されています。その3分の1から4分の1の患者さんの参加を目標としています。

(3) 予想される効果

この研究により、クロー・フカセ症候群に現在行われている治療の実態、長期効果等が明らかになり、治療が向上することが予測されます。また、新しい治療の臨床試験の情報を患者さんに直接お知らせすることができるようになることで、新規治療薬の承認が実現されたり、開発のスピードが速まったりすることが期待できます。また、事務局から定期的に発行されるニュースレターは患者さんの療養に役立つような本症候群の診断や治療に関する情報を扱うことを予定しています。

(4) 予想される危険性

この研究であつめる情報は、通常の診療で既に得られたデータに限られます。そのため、この研究に参加することにより新たに検査が増えるなどの負担は通常ありません。一方、ご担当の先生への書類作成の依頼や郵送等の事務的な負担、郵送料の金銭的な負担が生じます。そのため、事務的手続きは可能な限り簡略化しています。また、金銭的な負担は初回登録時の郵送のみで生じ、2回目以降の郵送は事務局からご送付した返送用封筒をご利用いただけます。

(5) 同意しない場合でも不利益を受けないこと

この研究に協力するかどうかは、あなたの自由意思で決めて下さい。同意しないからといって、それを理由にあなたが不利益をこうむることは一切ありません。

(6) 同意した後、いつでも同意を撤回できること

一旦同意した場合でも、不利益をこうむることなくいつでも同意を撤回することができます。

その場合、提供していただいたそれまでの情報のうち、個人を特定できる情報は廃棄されます。お体の状態や治療に関する情報は、同意を撤回された時点までのデータは解析対象とさせていただきます。

(7) 個人情報の取扱いについて

患者さんから提供された情報は、お名前や住所など個人を特定できる情報とお体の状態や治療に関する情報の大きく2つに分けて管理されます。

個人を特定できる情報は、以下の目的で利用いたします。

- ・事務局から患者さんまたは担当医に、登録票の内容の確認のためのご連絡
- ・事務局から患者さんへのニュースレターのご送付
- ・更新のための登録票のご送付
- ・臨床試験／治験のご案内

お体の状態や治療に関する情報は、個人を特定できる情報は含まずに管理されます。そのため、これらの情報から得られた研究成果が学会や医学雑誌などで公表されることであっても、患者さんのお名前などの情報が外部に漏れることは一切ありません。

なお、この研究で得られたデータは、研究終了の10年後にはすべて廃棄いたします。その際も、個人情報外部に漏れないよう十分に配慮いたします。

この研究のデータを別の目的の研究に二次的に利用する場合があります。その際は新たに研究実施計画書を作成し、別途倫理審査委員会の承認を受けて実施します。その場合もあなた個人を識別できるような情報がもれることはありません。

(8) この研究に関する情報の提供について

この研究に関して、研究計画や研究方法に関係する資料をお知りになりたい場合は、他の患者さんの個人情報や研究全体の目的や進行に支障となる事項以外はお知らせすることができます。いずれの場合も事務局にお申し出ください。

(9) 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること

この研究の結果として特許権などの知的財産権が生じることがありますが、ご参加いただいた患者さんにはこれらについて権利があるとはいえません。

(10) 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり

この研究は、厚生労働省からの研究費、千葉大学大学院医学研究院神経内科学の研究費を用いて実施され、利益相反はありません。また、研究実施計画は千葉大学大学院医学研究院利益相反審査委員会と倫理審査委員会で審査と承認を受けています。

ご参加いただくにあたって、患者さんの費用負担が通常の診療より増えることはありません。また、ご参加いただくにあたっての負担軽減費などのお支払いもありません。

(11) 研究組織

この研究は、以下の組織で行います。

1) 運営委員会

千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 教授 桑原 聡 (代表)
POEMS 症候群サポートグループ (患者会)

2) 登録情報利用および情報提供審査委員会

千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 片山加奈子
千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 准教授 三澤 園子
POEMS 症候群サポートグループ（患者会）【研究代表者】

(12) 研究担当者と連絡先（お問い合わせ窓口）

この研究について、何か聞きたいことやわからないこと、心配なことがありましたら、以下の研究担当者におたずねください。

【研究実施担当者】

- 桑原 聡 千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 教授
- 三澤 園子 千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 准教授
- 水地 智基 千葉大学大学院医学研究院脳神経内科学 医員

(○ 研究実施責任者)

【連絡先】

千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学

住 所：〒260-8670

千葉県千葉市中央区亥鼻 1-8-1

電 話：043-226-2129（脳神経内科医局）

同意書

(同意者保存用)

千葉大学大学院医学研究院長 殿

私は「 クロウ・フカセ (POEMS) 症候群の患者登録システムの構築 」について、目的、方法等に関する以下の説明を文書および口頭により受け、内容について十分理解し、下記の項目を了承しました。この書面をもって、私がこの研究に参加することを自由意志で決定したことを示すものとしません。

説明を受け理解した項目 (□の中にご自分でチェックをつけてください。**全ての項目にチェックをつけていただけない場合には、本研究の主旨をご理解頂いたことになりませんのでご注意ください。**)

- 研究の目的および意義
- 研究の方法
- 予想される効果
- 予想される危険性
- 同意しない場合でも不利益を受けないこと
- 同意した後、いつでも同意を撤回できること
- 個人情報の取扱いについて
- この研究に関する情報の提供について
- 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること
- 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり
- 研究組織
- 研究担当者と連絡先 (お問い合わせ窓口)

上記について説明文書を読み理解し、全てのチェック項目に印をつけました。

同意者署名 _____ 印 年 月 日

代諾者署名 _____ 印 本人との続柄 ()
年 月 日

(代諾者が署名する理由: □ 患者本人が未成年者のため、□ その他:)

同意書

(事務局送付用)

千葉大学大学院医学研究院長 殿

私は「 クロウ・フカセ (POEMS) 症候群の患者登録システムの構築 」について、目的、方法等に関する以下の説明を文書および口頭により受け、内容について十分理解し、下記の項目を了承しました。この書面をもって、私がこの研究に参加することを自由意志で決定したことを示すものとします。

説明を受け理解した項目 (□の中にご自分でチェックをつけてください。全ての項目にチェックをつけていただけない場合には、本研究の主旨をご理解頂いたことになりませんのでご注意ください。)

- 研究の目的および意義
- 研究の方法
- 予想される効果
- 予想される危険性
- 同意しない場合でも不利益を受けないこと
- 同意した後、いつでも同意を撤回できること
- 個人情報の取扱いについて
- この研究に関する情報の提供について
- 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること
- 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり
- 研究組織
- 研究担当者と連絡先 (お問い合わせ窓口)

上記について説明文書を読み理解し、全てのチェック項目に印をつけました。

同意者署名 _____ 印
年 月 日

代諾者署名 _____ 印 本人との続柄 ()
年 月 日

(代諾者が署名する理由: 患者本人が未成年者のため、 その他:

基本情報	発病時期・初発症状
記入日：西暦 年 月 日 病院名： _____ 氏名： _____ 男性・女性 生年月：西暦 年 月	西暦 年 月頃 初発症状 _____ 診断について 大基準 <input type="checkbox"/> 多発ニューロパチー（必須） <input type="checkbox"/> VEGF上昇 <input type="checkbox"/> モノクローナルな形質細胞増殖 小基準 <input type="checkbox"/> 骨硬化性病変 <input type="checkbox"/> キャッスルマン病 <input type="checkbox"/> 臓器腫大 <input type="checkbox"/> 浮腫 <input type="checkbox"/> 内分泌異常※ <input type="checkbox"/> 皮膚異常 <input type="checkbox"/> 乳頭浮腫 <input type="checkbox"/> 血小板増多 診断：Definite・Probable・Possible
自宅情報（書類送付先）	現在の運動機能
郵便番号 〒 _____ - _____ 住所： _____ 電話番号： _____ メールアドレス： _____ @ _____	<input type="checkbox"/> 支えなしで歩行が可能 <input type="checkbox"/> 歩行には支え（杖・装具等）が必要 <input type="checkbox"/> 歩行不能
治験・臨床試験について	現在の体の状態
治験・臨床試験の情報があれば、 （ <input type="checkbox"/> 情報提供をしてほしい・ <input type="checkbox"/> 情報は必要ない・ <input type="checkbox"/> 今はわからない） 現在、治験に参加していますか？ （ <input type="checkbox"/> している・ <input type="checkbox"/> していない）	<input type="checkbox"/> 症状がなく、家事・仕事などができ、病気になる前と同じようにふるまえる <input type="checkbox"/> 軽い症状があり、肉体労働はできないが、歩行や軽作業、座っての作業はできる <input type="checkbox"/> 歩行や身の回りのことはできるがたまに手助けがいる。軽作業はできないが、日中の50%以上は起きている <input type="checkbox"/> 身の回りのことはある程度できるが、しばしば手助けが必要で、日中の50%以上は横になっている <input type="checkbox"/> 重い障害があり、一人で生活することはできないが、常に見守りが必要ではない <input type="checkbox"/> 身の回りのことはできず、常に手助けが必要で、一日中横になっている
治療内容	
これまでの治療歴：なし・あり 副腎皮質ステロイド：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで または 治療中） 自己末梢血幹細胞移植：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで または 治療中） 免疫調整薬（サリドマイド等）：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで または 治療中） プロテアソーム阻害薬（ボルテゾミブ等）：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで または 治療中） 放射線療法：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで または 治療中）	現在の治療内容：なし・あり 副腎皮質ステロイド：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで） 自己末梢血幹細胞移植：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで） 免疫調整薬（サリドマイド等）：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで） プロテアソーム阻害薬（ボルテゾミブ等）：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで） 放射線療法：なし・あり （期間：西暦 年 月から 年 月まで）
検査値について	医師署名
VEGF（血管内皮増殖因子）値 測定日：西暦 年 月 日 測定条件：血清・血漿 （ _____ ） pg/ml	このデータは原情報に忠実に記入されており、医師の確認のもとに作成されたものであることを証明します。 医師署名： _____ 日付： _____ 年 月 日

「クロウ・フカセ（POEMS）症候群の患者登録システムの構築」 担当医の先生方への説明書

先生のご担当されているクロウ・フカセ症候群の患者さんが、患者登録システムへの登録をご希望されています。本文書は、担当の先生方への患者登録システムの説明・同意文書になります。お読み頂き、ご理解とご同意を頂けるようでしたら、是非ご協力をお願いいたします。

ご協力をお願いする具体的な事項は、以下の3つです

- ・説明・同意文書：ご確認とご署名（本文書。初回及び担当医交代時のみ。）
- ・登録用紙：該当箇所記入（初回と年1回の更新時。患者持参の文書への記入）
- ・指定難病個人票：コピー（初回と年1回の更新時。患者さんにお渡しください）

なお、以下の文書の中で、わかりづらい点、さらに説明が必要な点がありましたら、事務局までご質問をお願いします。

（1）研究の目的および意義

クロウ・フカセ（POEMS）症候群は、形質細胞異常と血管内皮増殖因子（VEGF）の異常高値を基盤に多発ニューロパチー・臓器腫大等の多彩な症状を呈する稀少難治性疾患です。本症候群の新規治療として、骨髄腫治療が応用されています。しかし、新規治療の有効性・安全性に関しては不明な点がまだ多く残されています。

クロウ・フカセ症候群の予後改善、治療標準化を今後進めるためには、少なくとも2つの問題点が存在すると私達は考えています。第一に、新規治療の有効性と安全性に関する長期間にわたる多数例のデータが乏しい点です。第二に、新規治療薬・手段に関する臨床試験の実施がほとんどなく、いずれも保険適用を有さない点です。今後、新規治療が普及し標準化されるためには、適切な臨床試験・治験実施と適用取得が必須となります。

本症例登録システムは、上記課題を解決するために、全国のクロウ・フカセ症候群患者の情報を連結可能匿名化し、収集することにより、クロウ・フカセ症候群患者の臨床情報を継続的に蓄積すること、未来の臨床試験へ登録症例からのリクルートを行うことを目的として計画しました。

（2）研究の方法

1）選択・除外基準

以下の選択及び除外基準を設定しています。

（1）選択基準：

- 1）診断基準の probable 以上を満たすクロウ・フカセ症候群患者
- 2）16 歳以上

（2）除外基準：

- 1）診断基準を満たさない患者
- 2）文書によるインフォームド・コンセントが取得できない患者

クロウ・深瀬（POEMS）症候群 診断基準

(Misawa and Kuwabara, Clin Exp Neuroimmunology 2013)

ご参加いただける患者さんは、診断基準の **definite** または **probable** を満たす患者さんです

大基準	<ul style="list-style-type: none">・多発ニューロパチー（必須）・VEGF 上昇※・モノクローナルな形質細胞増殖
小基準	<ul style="list-style-type: none">・骨硬化性病変・キャッスルマン病・臓器腫大・浮腫（または、胸水、腹水、心嚢水のいずれか）・内分泌異常※※ (副腎、甲状腺、下垂体、性腺、副甲状腺、膵機能のいずれか)・皮膚異常（色素沈着、剛毛、血管腫、チアノーゼ、爪床蒼白のいずれか）・乳頭浮腫・血小板増多

※ VEGF 値は、血漿、血清のいずれかで測定したかに関わらず高値であれば採用する。

※※ただし、甲状腺機能異常、膵臓機能異常については有病率が高いため単独の異常では小基準の 1 項目として採用しない。

Definite : 大基準を 3 項目とも満たし、かつ小基準を 1 項目以上満たす

Probable : 大基準のうち多発ニューロパチーと VEGF 上昇を満たし、

かつ小基準を 1 項目以上満たす

2) 研究の流れ

本研究は、患者さんご自身による症例登録システムへのご登録を頂くことから始まります。ご登録には、同意文書、登録用紙（初回登録時）、指定難病個人票のコピーが必要です。ご登録後は、年に1回、事務局から患者さんに情報更新の依頼を差し上げます。更新は、登録用紙（更新時）と指定難病個人票のコピーにより行われます。

先生方のご協力を頂きたいのは、上記の登録用紙（初回登録用・更新用）の記入補助と指定難病個人票のコピーです。また、患者さんにご送付頂いた登録票等に疑義が生じた際には、先生方に直接ご連絡をさせて頂くことがあります。

そのほか、事務局から患者さんに定期的なニュースレターの送付、新しい臨床試験/治験の案内をいたします。また、登録された情報を元に、現在行われている治療法の長期的な成績を明らかにする、臨床試験/治験の計画を行うなどの研究を行います。臨床試験/治験の計画に際し、試験を計画している研究機関や製薬企業に患者さんの数等の情報を提供することがありますが、患者さんの個人情報を提供することはありません。

3. この研究を実施する期間

この研究は、千葉大学の倫理委員会承認後から平成31年3月までを少なくとも予定しております。その後も、患者さんの登録状況等に応じて、倫理委員会の承認の下、延長する可能性があります。

4. この研究に参加する患者さんの予定人数について

この研究に参加する患者さんは100名を予定しています。

我が国におけるクロウ・フカセ症候群の患者さんの数は300－400名と推定されています。その3分の1から4分の1の患者さんの参加を目標としています。

(3) 予想される効果

本研究の実施により予想される効果は主に2つあると考えています。第一に、クロウ・フカセ症候群の治療の実態や長期成績が明確になり、治療法の向上に貢献する可能性です。第二に、新規治療薬の臨床試験の情報をクロウ・フカセ症候群患者に直接提供することが可能となり、臨床試験/治験が活性化される可能性です。また、事務局から発行されるニュースレターは、本症候群の診療に関する適切な情報を含み、患者さんの療養に資する可能性があります。

(4) 予想される危険性

本研究は既存資料に基づく観察研究のため、情報収集に伴う検査・費用負担が増える等の不利益はないと考えています。一方、登録票等の作成・送付や年に1回のフォローアップに際して、患者さん、ご担当の先生の事務的な負担は生じてしまいます。負担を可能な限り軽減するため、登録票の記入事項は最小限にとどめ、登録票の送付手順を簡略化しています。

(5) 同意しない場合でも不利益を受けないこと

本研究へのご同意が得られない場合に、ご担当の患者さん、先生双方に不利益が生じることはありません。

(6) 同意した後、いつでも同意を撤回できること

本研究へ一旦ご同意なされても、先生のご意志によりそのご同意はいつでも撤回頂けます。撤回にあたっては、同意撤回書にご署名頂きます。撤回されても、先生及びご担当の患者さんが不利益をこうむることは一切ありません。

ご同意を撤回された場合、提供していただいたそれまでの情報のうち、患者さん・ご担当の先生の個

人を特定できる情報は廃棄されます。臨床症状や治療に関する情報は、同意を撤回された時点までのデータは解析対象とさせていただきます。

(7) 個人情報の取扱いについて

患者さん・ご担当の先生から提供された情報は、個人を特定できる情報と臨床症状や治療に関する情報の大きく2つに分けて管理されます。

個人を特定できる情報は、以下の目的で利用いたします。

- ・事務局から患者さんまたは担当医に、登録票の内容の確認のためのご連絡
- ・事務局から患者さんへのニュースレターのご送付
- ・更新のための登録票のご送付
- ・臨床試験／治験のご案内

臨床症状や治療に関する情報は、個人を特定できる情報は含まずに管理されます。そのため、これらの情報から得られた研究成果が学会や医学雑誌などで公表されることがあっても、患者さんやご担当の先生のお名前などの情報が外部に漏れることは一切ありません。

なお、この研究で得られたデータは、研究終了の10年後にはすべて廃棄いたします。その際も、個人情報外部に漏れないよう十分に配慮いたします。

この研究のデータを別の目的の研究に二次的に利用する場合があります。その際は新たに研究実施計画書を作成し、別途倫理審査委員会の承認を受けて実施します。その場合も個人を識別できるような情報がもれることはありません。

(8) この研究に関する情報の提供について

この研究に関して、研究計画や研究方法に関係する資料をお知りになりたい場合は、他の患者さんの個人情報や研究全体の目的や進行に支障となる事項以外はお知らせすることができます。いずれの場合も事務局にお申し出ください。

(9) 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること

この研究の結果として特許権などの知的財産権が生じることがありますが、ご協力頂いた担当医の先生にこれらの権利をご主張頂くことはできません。

(10) 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり

この研究は、厚生労働省からの研究費、千葉大学大学院医学研究院神経内科学の研究費を用いて実施され、利益相反はありません。また、研究実施計画は千葉大学大学院医学研究院利益相反審査委員会と倫理審査委員会で審査と承認を受けています。

ご参加いただくにあたって、患者さんの費用負担が通常の診療より増えることはありません。また、ご参加いただくにあたっての負担軽減費などのお支払いもありません。

(11) 研究組織

この研究は、以下の組織で行います。

1) 運営委員会

千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 教授 桑原 聡 (代表)
POEMS 症候群サポートグループ (患者会)

2) 登録情報利用および情報提供審査委員会

千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 片山加奈子
千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 准教授 三澤 園子
POEMS 症候群サポートグループ (患者会) 【研究代表者】

(12) 研究担当者と連絡先

この研究について、何か聞きたいことやわからないこと、心配なことがありましたら、以下の研究担当者におたずねください。

【研究実施担当者】

- 桑原 聡 千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 教授
- 三澤 園子 千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学 准教授
- 水地 智基 千葉大学大学院医学研究院脳神経内科学 医員

(○ 研究実施責任者)

【連絡先】

千葉大学大学院医学研究院 脳神経内科学
住 所：〒260-8670
千葉県千葉市中央区亥鼻1-8-1
電 話：043-226-2129 (脳神経内科医局)

同意書

(同意者保管用)

千葉大学大学院医学研究院長 殿

私は「 クロウ・フカセ (POEMS) 症候群の患者登録システムの構築 」について、目的、方法等に関する以下の説明を文書および口頭により受け、内容について十分理解し、下記の項目を了承しました。この書面をもって、私がこの研究に参加することを自由意志で決定したことを示すものとしません。

説明を受けご理解頂いた項目 (全ての項目の口にチェックをお願いします。)

- 研究の目的および意義
- 研究の方法
- 予想される効果
- 予想される危険性
- 同意しない場合でも不利益を受けないこと
- 同意した後、いつでも同意を撤回できること
- 個人情報の取扱いについて
- この研究に関する情報の提供について
- 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること
- 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり
- 研究組織
- 研究担当者と連絡先 (お問い合わせ窓口)

上記について説明文書を読み理解し、全てのチェック項目に印をつけました。

同意者署名 _____ 印

年 月 日

ご所属 _____

ご連絡先 TEL _____

(ご所属・ご連絡先はスタンプで構いません)

同意書

(事務局送付用)

千葉大学大学院医学研究院長 殿

私は「 クロウ・フカセ (POEMS) 症候群の患者登録システムの構築 」について、目的、方法等に関する以下の説明を文書および口頭により受け、内容について十分理解し、下記の項目を了承しました。この書面をもって、私がこの研究に参加することを自由意志で決定したことを示すものとします。

説明を受けご理解頂いた項目 (全ての項目の口にチェックをお願いします。)

- 研究の目的および意義
- 研究の方法
- 予想される効果
- 予想される危険性
- 同意しない場合でも不利益を受けないこと
- 同意した後、いつでも同意を撤回できること
- 個人情報の取扱いについて
- この研究に関する情報の提供について
- 検査結果報告以外の研究成果に関する権利を放棄すること
- 当該臨床研究に係る資金源、起こり得る利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり
- 研究組織
- 研究担当者と連絡先 (お問い合わせ窓口)

上記について説明文書を読み理解し、全てのチェック項目に印をつけました。

同意者署名 _____ 印

年 月 日

ご所属 _____

ご連絡先 TEL _____

(ご所属・ご連絡先はスタンプで構いません)