

患者さんへ
臨床研究へのご協力をお願い

「X 染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症（XLH）患者を
対象としたアジア長期観察研究」
SUNFLOWER - study

これは臨床研究についての説明文書です。
内容を十分確認いただいた上で、この臨床研究に参加されるかどうか
患者さんご自身の自由意思でお決めください。
また、ご不明な点などがございましたら遠慮なくご質問ください。

説明文書・同意書

独立行政法人地域医療機能推進機構（JCHO）

大阪病院

目次

1.	はじめに	2
2.	研究の背景・目的・意義	3
3.	研究の方法について.....	4
4.	研究に参加することにより期待される利益および予想される不利益..	12
5.	あなたに守っていただきたい事項について	13
6.	研究の中止について.....	13
7.	研究に参加しない場合の治療法について	13
8.	研究に参加しない場合について.....	13
9.	研究終了後の対応について	14
10.	研究の参加予定期間.....	14
11.	研究の参加予定人数.....	14
12.	個人情報の保護について	14
13.	研究に関する情報の公開について	15
14.	研究の資金源および利益相反 ^{りえきそうはん} について	15
15.	研究に参加された場合のあなたの費用負担について.....	15
16.	研究中に健康被害 ^{けんこうひがい} が生じた場合の治療について.....	16
17.	研究終了後の結果の取り扱いについて	16
18.	データ・試料の二次利用について	18
19.	フォローアップセンターについて	18
20.	研究組織	20
21.	研究に関する相談・問合せ先	22

1. はじめに

(1) 参加について

今回、X染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症（XLH）の患者さんを対象に、医学的な特徴および病気の経過、患者さんの身体・精神的・経済的な負担、治療の有効性・安全性などを調べるための臨床研究を実施します。この説明文書をよくお読みになり、この研究について十分にご理解いただいた上で、あなたの自由な意思でこの研究に参加するかどうかを決めてください。

一旦、参加することに同意をいただいた後でも、いつでも研究への参加をやめることができます。たとえお断りになっても、また途中で参加をとりやめられても今後の治療に不利益になることはありません。ただし、参加を取りやめられた場合でも、あなたの健康状態を確認するために検査を受けていただくことがあります。

この研究にご協力頂けるようであれば、別紙の同意書にご署名をお願い致します。尚、18歳未満の患者さんについては、ご両親や保護者の方に同意（代諾）して頂き、16歳以上の患者さんは、ご本人にも同意して頂きます。

また、18歳未満の方が18歳になった際には、本人にあらためて本研究への参加について確認しますので、引き続きご協力頂ける場合は同意書にご署名をお願い致します。

なお、この研究は独立行政法人地域医療機能推進機構大阪病院倫理委員会において、科学的、倫理的および医学的妥当性の観点から審査を受け、病院長が許可した上で実施しています。

(2) 臨床研究とは

この研究は、主に製薬企業が厚生労働省に承認を得るために行う臨床試験、いわゆる‘治療’とは異なります。

最適な治療を患者さんに提供するために、病気の特性や治療について日々研究し、診断法、治療法の改善に努めています。このような診断や治療の改善の試みを一般に‘臨床研究’といいます。

今回実施する研究は、多施設の国際共同研究として、大阪大学医学部附属病院を中心に日本、韓国等の地域で約20の医療機関が参加して実施する予定です。

2. 研究の背景・目的・意義

あなたは、遺伝性低リン血症性くる病・骨軟化症という病気です。このうち、骨端線（「成長線」とも呼ばれる骨の両端にある軟骨のこと）閉鎖前の小児期に発症するものを「くる病」、骨端線閉鎖後に発症したものを「骨軟化症」と呼んでいます。

この病気では、遺伝子の変異によって線維芽細胞増殖因子 23 [Fibroblast Growth Factor 23]（以下、FGF23 と記します。）というリンの排泄を増やすホルモンが異常に増加することで、血中のリン濃度が低下します。骨の発育と強化に必要なリンが足りなくなることで骨の痛み、軟化が生じ、骨が曲がりやすくなる病気です。しかし、遺伝子の変異がどのようにして FGF23 を増やすのかは、現時点でははっきりとは解明されていません。また、遺伝性低リン血症性くる病は、原因となる遺伝子でさらに細かく分けられますが、そのほとんどが *PHEX* (*phosphate-regulating gene with homologies to endopeptidases on the X chromosome*) 遺伝子の変異で起こる XLH と呼ばれる病気です。遺伝性低リン血症性くる病の中で最も多いとされる XLH でも、発症は約 2 万人に 1 人程度といわれているきわめてまれな病気です。

主な治療法としては経口リン製剤と活性型ビタミン D 製剤の併用がありますが、血液中のカルシウム濃度が上昇し、腎臓の組織にカルシウムが蓄積したり腎臓に結石が形成されたりすることがありますので、リン製剤と活性型ビタミン D 製剤の投与量を注意深く調節する必要があります。

この病気は非常にまれであり患者さんの人数も少ないことから、詳しいデータが少なく、解明されていないことが多くあります。本研究は、治療内容、症状の変化、患者さんの身体・精神的・経済的な負担などを、既存の治療薬だけではなく、新しい治療薬の影響も含めて長期的に観察することで、この病気の医学的な特徴・経過を調べ、より良い治療を行うことを目的として計画しました。

3. 研究の方法について

(1) 研究の参加基準

●この研究に参加いただける方（以下の①～③の基準を全て満たす方）

- ① 医師により XLH と診断された方で、かつ以下の基準を 1 つ以上満たす方
 - ・ *PHEX* 遺伝子（責任遺伝子）の変異が確認された方
 - ・ X 連鎖遺伝関係を有する血縁家族のいずれかに *PHEX* 遺伝子変異が確認されている方
 - ・ FGF23 の値が 30 pg/mL を超えていることが確認された方
- ② 過去、もしくは現在、くる病・骨軟化症の身体所見または検査所見を有する方
- ③ 本人より文書同意が取得された 18 歳以上の患者さん、親または法定保護者の文書同意が取得された 18 歳未満の方※

※ 16 歳以上 18 歳未満の方については本人の文書同意も取得します。

※ XLH の症状は小児期から発生することが知られています。本研究では XLH の医学的な特徴および病気の経過などを観察する目的で実施するため、未成年の患者さんも対象としています。

● この研究に参加できない方（以下のいずれかの基準に該当する方）

- ① 同意取得時点で、他の臨床試験（治験）に参加している患者さん
- ② その他、担当医師が本研究への参加に対して好ましくないと判断した患者さん

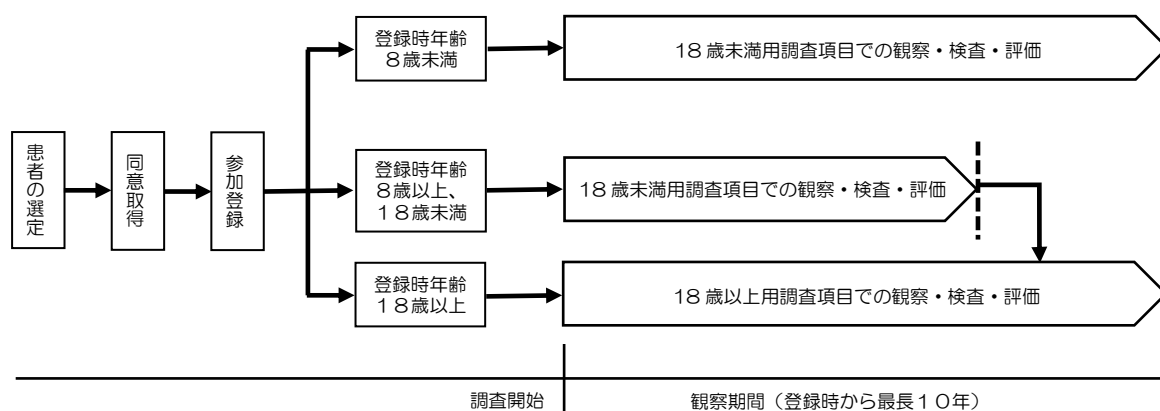
(2) 研究に使用する薬剤

本研究のために特別に使用する薬剤はありません。

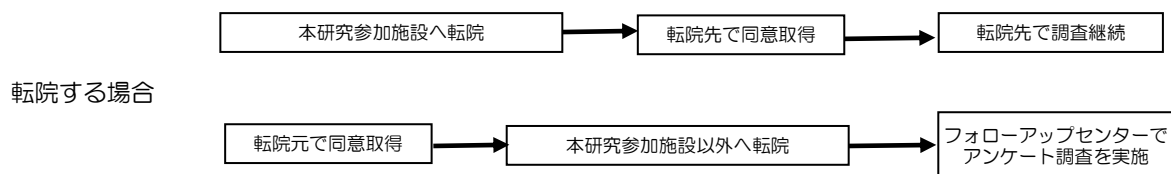
通常の XLH の治療、および XLH に関する合併症の治療で使用している薬剤の使用状況を確認します。

(3) 研究の進め方

この研究全体の流れを図にしました。



研究参加中に抗 FGF23 完全ヒト抗体（ブロスマブ）による治療を開始した場合、またはこの研究参加前からブロスマブによる治療を実施している場合は、「3. (5) ブロスマブによる治療を実施する患者さんの研究スケジュールと検査項目」にしたがって研究を進めます。



(4) 研究スケジュールと検査項目

この研究の参加期間は、約10年です。研究のスケジュールを表に示します。
〔18歳未満〕

調査・検査・評価項目	同意 ～ 登録	観察期						
		登録後						
		1 年目	2 年目	3 年目	4 年目	5 年目	7 年目	10 年目
身長、タナーステージ、体重	○*	○	○	○	○	○	○	○
血圧	○*	○	○	○	○	○	○	○
X線検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
CT検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
MRI検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
腎臓の超音波検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
骨折 ^①	○*	随時						
XLHおよび、XLHに関連する合併症の薬の使用状況	○*	○	○	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに関連する合併症に対する手術	○*	随時						
歯の状態に関する調査	○*	○	○	○	○	○	○	○
血液・尿の一般検査 (健康保険で行う日常の検査)	○*	随時						
中央機関で測定する血液・尿検査 (金銭的な負担はありません) ^②	●	●	●	●	●	●	●	●
XLHに関連する合併症	●*	●	●	●	●	●	●	●
座高・腕長・脚長の測定	●	●	●	●	●	●	●	●
運動機能の検査 ^③	●	●	●	●	●	●	●	●
生活の状況に関するアンケート調査 ^④	●	●	●	●	●	●	●	●
就労/就学に関する調査 ^⑤	●	●	●	●	●	●	●	●
安全性に関する調査		随時						

* : 研究参加前の情報も含まれます。

○ : 通常の診療で検査を実施した場合、研究のためにデータを使用します。

● : この研究のために実施していただく検査です。

〔18歳以上〕

調査・検査・評価項目	同意 ～ 登録	観察期				
		登録後				
		1 年目	3 年目	5 年目	7 年目	10 年目
身長、体重	○*	○	○	○	○	○
血圧	○*	○	○	○	○	○
X線検査	○*	○	○	○	○	○
CT検査	○*	○	○	○	○	○
MRI検査	○*	○	○	○	○	○
骨密度	○*	○	○	○	○	○
骨折 ^①	○*	随時				
腎臓の超音波検査	○*	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに 関連する合併症の薬の使用状況	○*	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに 関連する合併症に対する手術	○*	随時				
歯の状態に関する調査	○*	○	○	○	○	○
血液・尿の一般検査 (健康保険で行う日常の検査)	○*	随時				
座高・腕長・脚長の測定	●					
中央機関で測定する血液・尿検査 ^② (金銭的な負担はありません)	●	●	●	●	●	●
XLHに関連する合併症	●*	●	●	●	●	●
運動機能の検査 ^③	●	●	●	●	●	●
生活の状況に関するアンケート調査 ^④	●	●	●	●	●	●
就労/就学に関する調査 ^⑤	●	●	●	●	●	●
安全性に関する調査		随時				

* : 研究参加前の情報も含まれます。

○ : 通常の診療で検査を実施した場合、研究のためにデータを使用します。

● : この研究のために実施していただく検査です。

(5) ブロスマブによる治療を実施する患者さんの研究スケジュールと検査項目

新たにブロスマブによる治療を開始する場合、または研究参加前から治療を実施している場合は、以下の研究スケジュールにしたがってデータを収集します。

研究参加中にブロスマブによる治療を開始する場合は、「ブロスマブ投与開始前」の検査、観察を行い、その後は投与開始日を基準として3ヶ月後、6ヶ月後、1年後～と観察を続けます。

研究参加前からブロスマブによる治療を実施している場合は、いつから投与をしているかによって観察の時期が変わります。

研究参加中にブロスマブによる治療を中止した場合、投与再開までの期間が1年未満の場合は、これまでのスケジュールにしたがって研究を継続しますが、投与再開までの期間が1年以上経過した場合は、改めて、「ブロスマブ投与開始前」の検査、観察を行い、その後は投与を再開した日を基準として3ヶ月後、6ヶ月後、1年後～と観察します。なお、ブロスマブによる治療を中止したとしても、これまでのスケジュールにしたがって研究は継続します。

また、研究参加中に観察の時期が変わる場合であっても、この研究の参加期間は登録時から最長10年となります。

〔18歳未満でプロスマブを投与する患者さん〕

調査・検査・評価項目	同意～登録/ プロスマブ 投与開始前/ スケジュール 移行時	観察期								
		プロスマブ投与開始後								
		3 ヶ 月	6 ヶ 月	1 年 目	2 年 目	3 年 目	4 年 目	5 年 目	7 年 目	10 年 目
身長、タナーステージ、体重	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
血圧	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
X線検査	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
CT検査	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
MRI検査	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
腎臓の超音波検査	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
骨折 ^①	○*	随時								
XLHおよび、XLHに 関連する合併症の薬の使用状況	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに 関連する合併症に対する手術	○*	随時								
歯の状態に関する調査	○*	○	○	○	○	○	○	○	○	○
血液・尿の一般検査 (健康保険で行う日常の検査)	○*	随時								
中央機関で測定する血液・尿検査 (金銭的な負担はありません) ^②	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●
XLHに関連する合併症	●*	●	●	●	●	●	●	●	●	●
座高・腕長・脚長の測定	●		●	●	●	●	●	●	●	●
運動機能の検査 ^③	●		●	●	●	●	●	●	●	●
生活の状況に関するアンケート調査 ^④	●		●	●	●	●	●	●	●	●
就労/就学に関する調査 ^⑤	●			●	●	●	●	●	●	●
安全性に関する調査	随時	随時								

* : 研究参加前の情報も含まれます。

○ : 通常の診療で検査を実施した場合、研究のためにデータを使用します。

● : この研究のために実施していただく検査です。

〔18歳以上でプロスマブを投与する患者さん〕

調査・検査・評価項目	同意～登録/ プロスマブ 投与開始前/ スケジュール 移行時	観察期						
		プロスマブ投与開始後						
		3 ヶ 月	6 ヶ 月	1 年 目	3 年 目	5 年 目	7 年 目	10 年 目
身長、体重	○*	○	○	○	○	○	○	○
血圧	○*	○	○	○	○	○	○	○
X線検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
CT検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
MRI検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
骨密度	○*	○	○	○	○	○	○	○
骨折 ^①	○*	随時						
腎臓の超音波検査	○*	○	○	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに 関連する合併症の薬の使用状況	○*	○	○	○	○	○	○	○
XLHおよび、XLHに 関連する合併症に対する手術	○*	随時						
歯の状態に関する調査	○*	○	○	○	○	○	○	○
血液・尿の一般検査 (健康保険で行う日常の検査)	○*	随時						
座高・腕長・脚長の測定	●							
中央機関で測定する血液・尿検 査 ^② (金銭的な負担はありません)	●	●	●	●	●	●	●	●
XLHに関連する合併症	●*	●	●	●	●	●	●	●
運動機能の検査 ^③	●		●	●	●	●	●	●
生活の状況に関するアンケート 調査 ^④	●		●	●	●	●	●	●
就労/就学に関する調査 ^⑤	●			●	●	●	●	●
安全性に関する調査	随時	随時						

* : 研究参加前の情報も含まれます。

○ : 通常の診療で検査を実施した場合、研究のためにデータを使用します。

● : この研究のために実施していただく検査です。

① 骨折

研究参加以降にあなたが骨折した場合は、いつ、どの部位を骨折したのか速やかに担当医師にご連絡ください。

また、研究参加以前であなたの骨折の情報がある場合も研究で使用します。

② 中央機関で測定する血液・尿検査

中央の検査機関で検査項目を測定します。この検査費用は、全額、研究資金で負担しますので、あなたの負担はありません。

通常診療で行う血液検査と同時に最大 12ml 増量して採血を行います。
採尿は、全ての年齢において 10ml 行います。

■検査項目

検査項目	検査項目の性質	登録時	毎検査時
■血液の検査			
Intact FGF23	骨疾患の指標	○	
リン	骨代謝の指標	○	○
カルシウム	骨代謝の指標	○	○
アルブミン	血中タンパク濃度の指標	○	○
副甲状腺ホルモン-INTACT	副甲状腺疾患、骨疾患の指標	○	○
1, 25- (OH) ₂ ビタミン D	活性型ビタミン D 濃度の指標	○	○
血中 25 水酸化ビタミン D	ビタミン D の過不足の指標	○	○
アルカリホスファターゼ (18 歳未満のみ)	くる病・骨軟化症の指標	○	○
骨型アルカリホスファターゼ (18 歳以上のみ)	骨形成状態の指標	○	○
クレアチニン	腎臓機能の指標	○	○
尿素窒素	腎臓機能の指標	○	○
高感度 C 反応性蛋白 (18 歳以上のみ)	炎症の指標	○	○
■尿の検査			
リン	骨代謝の指標	○	○
カルシウム	骨代謝の指標	○	○
アルブミン	腎臓機能の指標	○	○
クレアチニン	腎臓機能の指標	○	○
尿定性検査、尿蛋白定量検査	疾患、病態の指標	○	○

③ 運動機能の検査

[18歳以上の方]

・3mの距離を、椅子から立ち上がって、歩いて往復していただき、その時間を測定します。

・左右の握力を測定します。

[5歳以上、18歳未満の方]

・6分間で歩行した距離を測定します。

④ 生活の状況に関するアンケート調査

この病気があなたの生活や気持ち、運動状態に及ぼしている様子を確認するために、アンケート調査を行います。

なお、アンケートの回答には30分程度かかる予定です。

⑤ 就労/就学に関する調査

回答時点で小学生以上の場合は、就労/就学についてアンケート調査を行います。

なお、アンケートの回答には5分程度かかる予定です。

4. 研究に参加することにより期待される利益および予想される不利益

(1) 期待される利益

この研究に参加することであなたが得られる特別な利益はありませんが、将来の医学の発展のためご協力をお願いしています。この研究に同意いただけても、これまで通り治療を受けられます。

本研究によりXLHの治療に関する有益な情報が得られる事が予想され、広くXLH患者さんの社会的な利益につながるものと考えられます。

(2) 予想される不利益

この研究に参加することで通常診療で行う血液検査と同時に最大12ml増量して採血を行います。この研究で採取する量は、臨床上、危険がない量と考えておりますが、気分が悪くなるなどの症状がありましたら、担当医師や相談窓口までご連絡下さい。また、検査スケジュールに従って運動機能検査や身体測定、アンケートや問診等を行うため、通常診療より時間が長くなります。

なお、研究の計画が変更される場合や、研究期間中に新たな情報があった

場合は、担当医師が速やかに詳細な説明を致します。あなたが不安を覚えるような重要な情報が得られた時には、このまま研究を続けるかどうかについてあなたの意思を確認致します。あなたの意思に影響を与えるような情報は速やかにお伝えします。

5. あなたに守っていただきたい事項について

- (1) 来院のご都合が悪くなったときは、連絡をお願いします。また、転居などで通院が難しくなる場合にも担当医師へ連絡してください。
- (2) 研究への参加を取りやめる場合は、できるだけ早く担当医師に連絡してください。

6. 研究の中止について

次のような場合、あなたが研究への参加に同意された後でも、研究を中止させていただきますので、あらかじめご了承ください。

- ・ あなたがこの研究への同意を撤回された場合
- ・ この研究の開始後に、参加基準を満たしていないことが判明した場合
- ・ 担当医師が、この研究への参加中止を判断した場合
- ・ 何らかの理由により、あなたと連絡が取れなくなった場合

また、途中で研究を中止することになった場合には、中止の理由をご説明し、その後は担当医師があなたと相談しながら通常の治療をおこないます。

7. 研究に参加しない場合の治療法について

この研究の参加によって治療内容を変えることはありませんので、参加の有無にかかわらず治療内容は変わりません。

8. 研究に参加しない場合について

この研究への参加はあなたの自由意思によるものであり、あなたは、あなた自身の意思に基づき、担当医師にその旨をお伝え頂くことにより、この研究への参加をいつでも拒否または撤回することができます。また、この研究への参加を拒否または撤回されても、治療内容は変わりません。あなたが不利な扱いを受たり、この研究に参加しない場合に受けるべき利益を失うこと

はありません。

なお、研究に参加した後に同意を撤回された場合にも、それ以前までに提供いただいた情報については、個人が特定できない形で使用させていただきます。もし、全ての情報を使用してほしくない場合には、その旨を研究担当医師にお伝えください。それらの情報を廃棄いたします。ただし、同意を撤回されたときすでに研究成果が論文などで公表されていた場合や、個人が容易に特定できない場合などには、廃棄できないこともあります。

9. 研究終了後の対応について

本研究は通常の治療経過での医療情報を観察・評価する「観察研究」です。本研究の期間中、および終了後の治療は、通常の治療に準じて行われます。

10. 研究の参加予定期間

あなたに参加していただく期間は、研究参加開始日から、2028年12月31日までです。

11. 研究の参加予定人数

この研究は、研究全体で約20施設、240名の患者さんに参加いただく予定です。日本では約180名の患者さんに参加いただきます。

12. 個人情報の保護について

研究参加の際は、あなたを特定できる情報（氏名、住所、電話番号等）の代わりに、研究用の番号をつけることで個人を特定できないようにします。また、この研究で得られた情報は、あなたを特定できる情報は記載せず取りまとめられます。そして、この研究の成績をまとめて学会発表や学術論文として公表されることもあります。いずれの場合もあなたの名前等の個人的な情報は一切公表されませんのであなたの個人情報は守られます。

また、患者さんの人権が守られながらきちんとこの研究が行われていることを確認するために、この研究の関係者（本院の職員、倫理審査委員会の委員、研究事務局の担当者および^{かんさ}監査担当者など）があなたの^{しんりょうろく}診療録などの医療記録を見ることがあります。このような場合でも、これらの関係者には、守秘義務があり、あなたの個人情報は守られます。

この研究は、他の施設との共同研究です。したがって、あなたのデータを他の施設に提供しますが、その際にもあなたを特定できる情報を記載せず、個人が特定できないように配慮します。

13. 研究に関する情報の公開について

この研究に関する資料をご覧になりたい場合は、可能な範囲で閲覧いただけるように手続きを致しますので担当医師へお申し出下さい。

また、この研究の情報は、以下のデータベースで公開しています。

尚、研究参加者個人が特定される情報は公開されません。

- 大学病院医療情報ネットワーク研究センター（UMIN）
(<http://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm>)
- clinical trials.gov（クリニカルトライアルズ・ドット・ゴブ）
(<https://clinicaltrials.gov/>)

14. 研究の資金源および利益相反^{りえきそうはん}について

研究を行うときに、研究費・資金などの提供を受けた特定の企業に有利なようにデータを解釈することや、都合の悪いデータを無視してしまう恐れがあります。これを「利益相反（COI）」といいます。当院では利益相反（COI）の管理を、臨床研究利益相反審査委員会が行っており、我々は研究実施に際し、臨床研究利益相反審査委員会に利益相反状態の申告を行うことになっています。

この研究は、協和キリン株式会社からの資金提供により実施します。同社は本研究の計画、実施、発表に関する意思決定に関わりますが、研究結果が、協和キリン株式会社に都合の良い結果となるように、意図的に歪められることはありません。また、最終的なデータは協和キリン株式会社へ移されます。本研究の実施に伴い、担当医師が個人的に利益を受けることはなく、この研究の実施や報告にあたり、個人や組織の利益のために公正な判断を曲げるようなことは一切ありません。

15. 研究に参加された場合のあなたの費用負担について

この研究に参加することであなたに発生する費用について、説明します。この研究は通常の治療が実施されている中で、あなたの治療上の情報を収

集して解析を行っていく「観察研究」というものです。研究にかかる医療費は基本的に通常の医療保険の扱いとなります。なお、この研究のための特別な血液検査、尿検査の検査費用については、本研究を実施する研究資金によって負担されますので、研究に参加することによりあなたの医療費の負担が増えることはありません。

なお、本研究にご参加いただくことにより、アンケート等で通常より時間がかかります。これらの負担を軽減するために研究の検査やアンケートのための来院1回につきクオカード 5,000 円分をお渡しします。

16. 研究中に^{けんこうひがい}健康被害が生じた場合の治療について

本研究は通常の治療経過での医療情報を観察・評価する「観察研究」であるため、本研究の実施により行われる追加の治療はありません。この研究に参加したことにより、あらたに研究参加が原因として生じる副作用など、あなたの身体への何らかの健康被害が生じることはないと考えます。

しかしながら、研究への参加期間中に本研究が原因であなたの身体に生じた症状等には、適切な治療を致します。治療は一般診療で行われ、健康保険で定められている自己負担分の費用が発生します。

本研究のために実施した検査が原因で健康被害が生じた場合、治療に要する費用などは、協和キリン株式会社が適切に補償（負担）いたします。なお、協和キリン株式会社は、本研究に係わる健康被害補償について、患者さんが適切な補償が受けられるよう保険契約を締結しています。

ただし、その健康被害が明らかに本研究と関連がない場合、又は担当医師の指示に従わなかったなど、患者さんの故意または重大な過失によって生じた場合は補償の対象とならない場合があります。補償に関しご質問などがありましたら、担当医師又は相談窓口におたずね下さい。

17. 研究終了後の結果の取り扱いについて

(1) 試料およびデータの保存方法並びに保管期間について

研究により得られたデータおよび検体は、診療番号やお名前など個人を特定する情報がわからないように加工した状態にして保存されます。

本研究で得られたデータは、研究終了後5年間または結果の最終公表後3年間のいずれか遅い期間まで当院で保存します。保存期間終了後は、加工し

たまま適切に廃棄します。なお、研究成果は協和キリン株式会社に帰属しますが、協和キリン株式会社でも、あなたを特定できない状態で、データを研究終了後 5 年または結果の最終公表後 3 年間のいずれか遅い期間まで保存します。

あなたの病気に関する新たな検査項目等が明らかになった場合等のために、本研究で得られた検体を用いて、追加で新たな検査項目を測定することがあります。このため、この研究のために採取した血液、尿などの検体は、研究終了後 3 年間保存させていただき、保存期間終了後は加工したまま適切に廃棄します。

(2) 研究成果の帰属について

この研究の結果として特許権等が生じる可能性があります、その権利は、研究委託者である協和キリン株式会社に帰属し、あなたには帰属しません。また、その権利により経済的利益が生じる可能性があります、あなたにはその権利もありません。

(3) 他の研究施設へのデータ・試料の提供について

この研究では、研究のデータと試料を他の機関へ提供します。具体的には、データについては、データセンターとしてデータを集める株式会社エスアールディ（所在地：日本）、統計解析機関である大阪公立大学および合同会社スタットアカデミー（所在地：日本）に提供します。また、試料については、血液および尿検体の測定を行う株式会社エスアールエル（所在地：日本）に提供します。

さらに、本研究のデータを海外の研究データと合わせて解析する、もしくは比較するために、データを国内、海外の研究機関へ提供する可能性があります。その場合も、診療番号やお名前など個人を特定する情報がわからないように加工したデータを提供します。提供先の国や研究機関として、現時点で NPO アーバー・リサーチ（所在地：米国）を予定していますが、それ以外の提供先の国や研究機関は、本研究で得られた結果や、今後の研究結果によって決まることもあるため、説明及び同意取得を行う今の時点では、お伝えすることはできません。試料については、株式会社エスアールエル以外に提供する予定はありません。データの提供先等が決定した場合は、協和キリ

ン株式会社のホームページ等にて、情報公開します。

個人情報の取扱い、提供先の機関名、提供先における利用目的が妥当であること等について倫理審査委員会で承認を得ています。

18. データ・試料の二次利用について

この臨床研究のために集めたデータおよび試料は、分析によって得られた結果について、学会発表や学術論文として公表することや、また、臨床研究や新しいお薬の開発を目的として、この研究とは別の研究に利用させていただく可能性があります。これを「データ・試料の二次利用」といいます。データおよび試料は、個人を特定できない形で、改めてその研究を審査する倫理審査委員会と協和キリン株式会社の倫理審査委員会の両方またはいずれかの倫理審査委員会で審査を経たのちに利用します。二次利用が決定した場合は、協和キリン株式会社のホームページ等にて、情報公開します。

本研究のデータは海外の研究データと合わせて研究するために、NPO オーバー・リサーチ（所在地：米国）で解析する予定です。提供されたデータは、米国の個人情報保護に関する制度に従って保護されます。現時点で、具体的に適用される法令は明言できませんが、適用される連邦法や州法などを適切に遵守するほか、今後法改正等がされた場合には、それらに従って適切な保護を行います。

提供先の国や研究機関は、本研究で得られた結果や、今後の研究結果によって決まることもあるため、説明及び同意取得を行う今の時点では、お伝えすることはできません。今後、新たに提供先が増える場合には、協和キリン株式会社のホームページ等にて、情報公開します。

ご協力いただける場合は、同意書の「本研究で得られたデータを別の研究等のために使用することについて」、および「本研究で得られた試料（血液、組織等）を別の研究等のために使用することについて」の項の「同意します」にチェックをいれてください。この場合、データは協和キリン株式会社にて二次利用した研究の最終公表後、最大 10 年間保管します。

19. フォロースタディについて

この研究は、あなたの病気の症状の変化、身体・精神的・経済的な負担などを長期的に観察することで、この病気の医学的な特徴・経過を調べること

を目的として実施しています。

そのため、あなたが転居や転院などの理由で本院へ通院できなくなった時は、予定していた研究のスケジュールに従い、本研究のフォローアップセンターである、福岡大学病院臨床研究支援センターより、研究期間終了までの間、アンケートを直接お送りしたいと考えています。アンケートにお答え頂きましたら、フォローアップセンターへご返送いただきます。アンケートにご協力いただいた際のお礼として、1回あたり1,000円のクオカードをお渡しします。アンケートの内容は以下の通りです。アンケート結果は、フォローアップセンターが、個人を特定できない形でデータセンターに提供します。

■実施するアンケート

【18歳未満】

- ・身長・体重
- ・骨折
- ・XLH および関連する合併症に対する薬剤の使用状況
- ・生活の状況に関するアンケート
- ・就労/就学に関する調査
- ・現在の通院先
- ・（変更がある場合）現在の居住地、連絡先

【18歳以上】

- ・骨折
- ・XLH および関連する合併症に対する薬剤の使用状況
- ・生活の状況に関するアンケート
- ・就労/就学に関する調査
- ・現在の通院先
- ・（変更がある場合）現在の居住地、連絡先

実際にあなたの転居や転院などが決まりましたら、担当医師よりフォローアップセンターの案内をお知らせします。その際に、フォローアップセンターに知らせるための、あなたの郵便番号、住所、連絡先（電話番号、メールアドレス）をお伺いします。フォローアップセンターには、あなたの氏名も提供します。

ご協力頂ける場合は、同意書の「フォローアップセンターによる調査に協力することについて」の項の「同意します」にチェックをいれてください。フォローアップセンターは、あなたの氏名、郵便番号、住所、連絡先（電話番号・メールアドレス）および返送していただいたアンケートを預かります。これらを本研究以外の目的で使用するのではなく、研究終了後 5 年間または結果の最終公表後 3 年間のいずれか遅い期間まで保存し、保存期間終了後は適切に廃棄します。

20. 研究組織

この研究は、日本で 17 施設、韓国で 3 施設と共同で実施します。

【研究代表者】（研究全体を統括する研究者）

医療法人医誠会 医誠会国際総合病院
難病医療推進センター 大藺 恵一

【研究委託者】（研究代表者と協議して本研究を運営する組織）

協和キリン株式会社

【研究事務局】（事務的な業務を行う会社）

株式会社エスアールディ 臨床研究部

【データセンター】

株式会社エスアールディ データサイエンス部

【統計解析機関】

大阪公立大学大学院医学研究科 医療統計学教室
合同会社スタットアカデミー
株式会社エスアールディ データサイエンス部

【検体の測定】

株式会社エスアールエル

【参加施設】

- 大阪大学医学部附属病院
小児科 窪田 拓生
- 地方独立行政法人大阪府立病院機構 大阪母子医療センター
骨発育疾患研究部門／腎・代謝科 道上 敏美
- 独立行政法人地域医療機能推進機構（JCHO）大阪病院

- 小児科 柏木 博子
- 東京大学医学部附属病院
腎臓・内分泌内科 伊東 伸朗
- 虎の門病院
内分泌代謝科 竹内 靖博
- 大阪公立大学医学部附属病院
骨・内分泌内科 今西 康雄
- 滋賀医科大学医学部附属病院
小児科 丸尾 良浩
- あいち小児保健医療総合センター
内分泌代謝科 濱島 崇
- 兵庫県立こども病院
代謝内分泌科 尾崎 佳代
- 岡山済生会総合病院
小児科 田中 弘之
- 地方独立行政法人東京都立病院機構 東京都立小児総合医療センター
内分泌・代謝科 長谷川 行洋
- 千葉県こども病院
内分泌科 數川 逸郎
- 国立研究開発法人 国立成育医療研究センター
小児内科系専門診療部 内分泌・代謝科 堀川 玲子
- 埼玉県立小児医療センター
代謝・内分泌科 望月 弘
- 九州大学病院
小児科 虫本 雄一
- 北海道大学病院
小児科 中村 明枝
- 滋賀県立小児保健医療センター
小児科 柴田 実
- 医療法人医誠会 医誠会国際総合病院
小児科 北岡 太一

- Seoul National University Hospital
Division of Pediatric Nephrology, Department of Pediatrics
Hee Gyung Kang
- Severance Hospital
Endocrinology and Metabolism Yumie Rhee
- Asan Medical Center
Pediatric Endocrinology and Metabolism Jin-Ho Choi

21. 研究に関する相談・問合せ先

この研究について、わからないこと、相談したいことがありましたら、遠慮なくおたずねください。

独立行政法人地域医療機能推進機構 大阪病院 小児科 部長
研究責任者：柏木 博子
連絡先：06-6441-5451（代表）

同意文書

地域医療機能推進機構大阪病院小児科 診療部長 柏木 博子 殿

私は、「X 染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症（XLH）患者を対象としたアジア長期観察研究（SUNFLOWER - study）」の研究に参加するに当たり、担当者から、下記のことについて十分に説明を受けて納得しましたので、自由意思によりこの研究に参加することに同意します。なお、同意説明文書及び同意文書を受領しました。

- | | |
|-----------------------------------|---|
| 1. はじめに | 13. 研究の資金源および利益相反について |
| 2. 研究の背景・目的・意義 | 14. 研究に参加された場合のあなたの費用負担について |
| 3. 研究の方法について | 15. 研究中に健康被害が生じた場合の治療について |
| 4. 研究に参加することにより期待される利益および予想される不利益 | 16. 研究終了後の結果の取り扱いについて |
| 5. あなたに守っていただきたい事項について | 17. データ・試料の二次利用について
<input type="checkbox"/> 同意する <input type="checkbox"/> 同意しない
(いずれかに✓を入れてください) |
| 6. 研究の中止について | 18. フォローアップセンターについて
<input type="checkbox"/> 同意する <input type="checkbox"/> 同意しない
(いずれかに✓を入れてください) |
| 7. 研究に参加しない場合の治療法について | 19. 研究組織 |
| 8. 研究終了後の対応について | 20. 研究に関する相談・問合せ先 |
| 9. 研究の参加予定期間 | |
| 10. 研究の参加予定人数 | |
| 11. 個人情報の保護について | |
| 12. 研究に関する情報の公開について | |

（研究担当医師）

説明日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（説明補助者）

説明日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（本人）

同意日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（代諾者）

同意日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

患者さんの氏名

患者さんからみた続柄

同意文書

地域医療機能推進機構大阪病院小児科 診療部長 柏木 博子 殿

私は、「X 染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症（XLH）患者を対象としたアジア長期観察研究（SUNFLOWER - study）」の研究に参加するに当たり、担当者から、下記のことについて十分に説明を受けて納得しましたので、自由意思によりこの研究に参加することに同意します。なお、同意説明文書及び同意文書を受領しました。

- | | |
|-----------------------------------|---|
| 1. はじめに | 13. 研究の資金源および利益相反について |
| 2. 研究の背景・目的・意義 | 14. 研究に参加された場合のあなたの費用負担について |
| 3. 研究の方法について | 15. 研究中に健康被害が生じた場合の治療について |
| 4. 研究に参加することにより期待される利益および予想される不利益 | 16. 研究終了後の結果の取り扱いについて |
| 5. あなたに守っていただきたい事項について | 17. データ・試料の二次利用について
<input type="checkbox"/> 同意する <input type="checkbox"/> 同意しない
(いずれかに✓を入れてください) |
| 6. 研究の中止について | 18. フォローアップセンターについて
<input type="checkbox"/> 同意する <input type="checkbox"/> 同意しない
(いずれかに✓を入れてください) |
| 7. 研究に参加しない場合の治療法について | 19. 研究組織 |
| 8. 研究終了後の対応について | 20. 研究に関する相談・問合せ先 |
| 9. 研究の参加予定期間 | |
| 10. 研究の参加予定人数 | |
| 11. 個人情報の保護について | |
| 12. 研究に関する情報の公開について | |

（研究担当医師）

説明日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（説明補助者）

説明日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（本人）

同意日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

（代諾者）

同意日 西暦 年 月 日 氏名（自署）

患者さんの氏名

患者さんからみた続柄