

(情報公開揭示用文書)

令和4年2月2日

**研究の名称： 川崎病急性期治療の費用対効果分析
-インフリキシマブ治療による患者効用、治療アウトカムと医療費に対する効果-**

研究責任者：賀藤 均 国立成育医療研究センター病院長

共同研究者：田倉智之 東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学教授

共同研究者：堀内清華 東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学特任研究員

共同研究者：掛江直子 国立成育医療研究センター生命倫理研究室長

研究協力病院：国立成育医療研究センター、東京都立小児医療センター、埼玉医科大学総合医療センター、東邦大学医療センター大森病院、沖縄県立南部医療センター・こども医療センター、地域医療機能推進機構九州病院、千葉大学医学部附属病院、埼玉県立小児医療センター、弘前大学医学部附属病院、山梨大学医学部附属病院、長崎大学病院、大分県立病院、韮崎市立病院、山梨県立中央病院、千葉県こども病院（順不同）

上記の多施設共同臨床研究が、国立成育医療研究センターを中心として行われています。当院、沖縄県立南部医療センター・こども医療センターもこの臨床研究に参加しています。

【背景】 川崎病の急性期治療は大量免疫グロブリン点滴静注療法（IVIG）ですが、不応例が約20%存在しています。不応例に対するセカンドライン治療として、IVIG追加、ステロイド、免疫抑制剤があり、さらに近年インフリキシマブ（IFX）療法の有効性が報告されています。

【研究の目的】 本研究は、初発川崎病で、大量ガンマグロブリン療法に不応だった症例において、セカンドライン以降の治療の費用対効果を評価することを目的として計画されました。不応例に対するインフリキシマブによる治療による心合併症予防および費用対効果を、インフリキシマブ以外の薬剤と比較することで、今後の初回治療不応の川崎病に対する治療戦略に貢献する知見を得ることを期待しています。

【研究期間】 倫理審査委員会承2022年1月13日から2025年6月30日迄

登録期間：2022年1月13日から～2023年12月31日（登録後1年間のフォローアップ）

【研究の方法】

■15歳未満の川崎病初発で、初回のガンマグロブリン大量静注療法単独あるいは併用療法に不応あるいは再燃した場合に、研究対象者となります。

■セカンドライン治療導入前に、研究協力者から、当該研究に関する説明を受けて頂き、ご同意を頂けましたら、研究に登録となります。

■ただし、患者さまの状況を鑑みて、セカンドライン治療導入以降に研究の説明を行い、ご同意いただけただけの場合も、研究に登録となります。

■研究登録時、登録後の川崎病治療実施毎、登録後初回の退院時、発症後2-3か月、6か月、12か月時に追跡調査をさせていただきます。なお、本研究登録後の治療は、川崎病治療ガイドライン及び各病院の方針に沿って通常診療の中で行われます。

■登録時には、患者さまの家族背景などの情報を、質問票に記入していただきます。

■患者本人の生活の質（QOL）を評価するため、入院中、退院時および発症後2-3か月、6か月、12か月時に、患者さまのQOLを測定するための質問票への記入を保護者の方に代理で行っていただきます。1回の調査票への記入は10分程度です。退院後にご記入いただいたQOL調査票は郵送で、直接、東京大学医療経済政策学講座に送っていただきます。

■その他に、診療情報（治療内容、検査内容と結果、副作用の有無など）や診療報酬情報（診療にかかった金額）を収集して、解析に用います。当院に紹介される前に別の病院で治療を受けていた場合や、セカンドライン治療開始以降に研究に参加した場合には、前医からの紹介状や領収書の情報も収集させていただきます。

■診療情報と診療報酬の情報は電子データとして、当院よりデータ解析を担当する東京大学医療経済政策学講座に送られ、保管されます。QOL調査票は郵送で、東京大学医療経済政策学講座に直接送っていただきます。これらは、東京大学医療経済政策学講座にて集計、解析されます。

※調査の流れ図

登録時	治療追加時	初回退院時	発症後 2-3か月	発症後 6か月	発症後 12か月
〔保護者記入〕 ・同意書 ・質問票（属性情報） ・EQ-5D-Y ・PedsQL	〔保護者記入〕 ・EQ-5D-Y ・PedsQL	〔保護者記入〕 ・EQ-5D-Y ・PedsQL	〔保護者郵送調査〕 ・EQ-5D-Y ・PedsQL	〔保護者郵送調査〕 ・EQ-5D-Y ・PedsQL	〔保護者郵送調査〕 ・EQ-5D-Y ・PedsQL
〔協力病院〕 ・前医の治療内容 ・電子データ入力および郵送	〔協力病院〕 ・臨床経過 ・電子データ入力および郵送	〔協力病院〕 ・臨床経過 ・電子データ入力および郵送	〔協力病院〕 ・臨床経過 ・電子データ入力	〔協力病院〕 ・臨床経過 ・電子データ入力	〔協力病院〕 ・臨床経過 ・医療費データ ・電子データ入力

※ 退院後転院した参加者の臨床経過、医療費は欠損データとなる。ただし、同意が得られれば、診断名および領収書のコピーを受け取る。

【研究対象者】以下の選択基準に合う患者さんで、除外基準に該当しない方です。

対象者：15歳未満の川崎病初発で、初回のガンマグロブリン大量静注療法単独あるいは併用療法に不応あるいは再燃した場合で、かつ心臓合併症がない場合に、研究対象者となります。

選択基準：

1. 初発の川崎病の患者
2. 初回のガンマグロブリン大量静注単独療法（2g/kg）に不応、もしくは再燃で、セカンドライン以降の治療が実施される者
3. 初回のガンマグロブリン大量静注療法（2g/kg）と免疫抑制剤あるいはステロイド併用療法に不応、もしくは再燃で、セカンドライン以降の治療が実施される患者
4. 川崎病初発時に15歳未満である患者
5. 代諾者（対象患児の親権者もしくは未成年後見人）から文書によるインフォームドコンセントが得られる者。また、対象患児が7歳以上の場合は、本人からの口頭によるインフォームドアセントが代諾に合わせて得られる者。

除外基準：

1. 川崎病初発時15歳以上
2. 初回治療がガンマグロブリン大量療法（2g/kg未満）でない場合
3. 初回治療開始前に冠動脈病変を認める場合
4. 川崎病発症前に何らかの心疾患を診断されている場合（治療対象になっていない卵円孔開存、心房中隔欠損症、心室中隔欠損症は除外対象としません）
5. 重篤な基礎疾患（免疫不全、染色体異常、先天性代謝異常）を合併している患者
6. 研究責任/分担医師が本研究への参加を不相当と判断する場合

【研究対象者に生じる負担並びに予測されるリスク及び利益】

この研究が、対象者に直ちに有益な情報をもたらす可能性はありません。しかし、この研究の成果は、今後の小児医療の費用対効果研究および川崎病の治療に関する研究の発展に寄与することが期待されます。したがって、将来、同じ病気で闘病される子どもたちに利益をもたらす可能性があります。この研究では、患者さまの生活の質を評価するために、通常の診療に加えて、患者さままたはその親権者にお方に質問票に記入していただきます。質問票の記入に伴う時間的拘束や心理的な負担がかかる可能性が考えられますが、一回の記入は10分程度と短時間であり、内容も一般に広く使われているものであり心理的な負担をかける内容ではありません。しかし、できるだけご負担を軽減するために質問票記入に伴う拘束時間をなるべく短くする工夫をしています。

【自由意思による同意および同意の撤回】

この研究にご協力いただくかどうかは、患者さまの自由意思に委ねられています。今回研究の対象者となる患者さまは未成年ですので、保護者の方がご本人に代わってご判断いただきます。また、患者さま本人の意思を大切にしたいと考えておりますので、ご理解いただける範囲でご説明させて頂き、7歳以上の患者さまからは了解（アセント）を頂きたいと考えております。なお、一旦同意した後でもお気持ちが変わった場合は、同意を撤回することができます。

【不同意又は同意撤回の取扱い】

研究にご協力いただけない場合、ならびに同意を撤回された場合にも、患者さまの治療において不利益を受けることはありません。ご本人もしくは代諾者からの同意撤回の申し出があれば、情報・データ等及び調べた結果を廃棄します。ただし、同意を撤回されたとき、すでに研究結果が論文等で公表されていた場合等は、さかのぼって廃棄することができません。

【研究に関する情報公開の方法】

研究の成果は、患者さまの氏名等の個人情報明らかにしないようにした上で、学会発表や学術雑誌、国内および海外のデータベース等に公表されます。個人的なお問い合わせをいただいた場合でも、匿名化した上で情報を扱っているため、個別の研究結果についてはお伝えすることができません。しかし、医学的な観点等からお伝えする必要があると判断する情報が得られた場合には、お問い合わせがない場合でも倫理的側面を考慮して、匿名化を解除してお知らせする場合があります。

【研究計画書等の入手又は閲覧の方法】

研究計画書や研究の方法に関する資料を閲覧もしくは入手して、研究内容を詳しくお知りになりたい場合は、後述の【研究対象者等からの相談ならびにお問合せへの対応】に記載しております問合せ先にご連絡ください。研究の独創性確保に支障がない範囲でご提供させていただきます。

【個人情報等の取扱い】

収集した情報・データ等は、原則としてこの研究のためにのみ使用します。研究期間（2025年6月30日迄）終了後5年間の保管期間を経たのち、収集した試料や情報・データ等は、紙媒体はシュレッターで、電子媒体は外部記憶装置を破壊し修復不可能な形で廃棄します。

この研究において得られた情報・データ等は匿名化して保管します。これらの情報・データ等は前述の保管期間に、この研究以外の研究に使用される可能性があります。その場合には改めて国立成育医療研究センター倫理審査委員会の承認を受け、改めて患者さま（代諾者）の意向を確認させていただくか、または情報公開により研究対象者となることを拒否する機会を設けた上で、研究に使用されます。

【情報の保管及び廃棄の方法】

この研究において収集される情報・データ等は、外部に漏えいすることのないよう、慎重に取り扱います。収集した情報・データ等は、研究協力病院から東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学講座に送られ解析・保存されますが、送付前に氏名等の個人情報を削除し、代わりに新しく符号（研究ID）をつけて、どなたのものか分からないようにします（この手続きを「匿名化」といいます）。匿名化した情報は、東京大学大学院医学系研究科医療経済政策学講座の研究責任者およびデータ取扱者のみ使用できるパスワードロックをかけたパソコン、鍵のかかるロッカー等で厳重に保管します。ただし、情報・データ等に不足があった場合や医療上の理由で患者さまにお知らせすべき情報が得られた時など、必要に応じて、当院において研究IDから氏名等を調べることもできるようにしています。匿名化を解除する場合は、個人を特定しても良いかを倫理審査委員会で判断してもらい、研究者が勝手に個人を特定することはいたしません。

【研究の資金源等、利益相反等に関する状況】

研究の資金源は、厚生労働行政推進調査事業費（難治性疾患政策研究事業）「成育医療からみた小児慢性特定疾病対策の在り方に関する研究」で、公的な資金で実施されます。また、本研究に関して、開示すべき利益相反関係はありません。

【研究対象者等からの相談ならびにお問合せへの対応】

本研究についてのご相談ならびにお問合せにつきましては、以下までお願いします。

東京大学大学院医学系研究科・医療経済政策学講座特任研究員 堀内 清華 03-5800-9523

国立成育医療研究センター・生命倫理研究室長 掛江 直子 院内PHS: 03-5494-8298

沖縄県立南部医療センター・こども医療センター 小児循環器内科 北野 正尚 病院代表
098-888-0123

【研究対象者への経済的負担または謝礼について】

今回の研究に必要な費用について、患者さま負担を求めることはありません。ただし、川崎病の治療自体は通常診療となりますので、自己負担分はご負担いただきます（通常の医療費助成等が使えます）。また、本研究では謝金のお支払いはございません。

【健康被害に対する補償の有無等】

今回の研究は、川崎病診療ガイドラインに基づいて治療を受けておられる患者さんに、生活の質の調査票にご回答を頂き、また治療情報と医療費情報をご提供いただき解析するものであり、この研究にご協力いただくことによって健康被害等が生じることはございません。

万が一、治療において、健康被害が生じた場合は、通常の治療における対応となります。

【当院研究責任者】

沖縄県立南部医療センター・こども医療センター
小児循環器内科 医長 北野正尚
病院代表 098-888-0123