よくお読みください

**●●●に対するXXXの**

**治験について**

**説明文書および同意文書**

この冊子は、●●●に対するXXXの治験について説明したものです。この説明文書をよく読み、治験の内容をご理解いただいた上で、この治験に参加されるかどうかを、あなた自身で決めてください。参加されるかどうかはあなたの自由な意思であり、参加を辞退されたとしても、そのためにあなたが不利益をこうむることは一切ありません。この治験の参加に同意された後や治験を開始した後でも、いつでもあなたは治験の参加を取りやめることができます。

内容について、質問や心配なことがありましたら、遠慮なく、治験担当医師または臨床研究コーディネーターにお尋ねください。

治験課題名：

日本人●●●患者に対するXXX投与の有効性及び安全性を検証する

プラセボ対照、多施設共同二重盲検ランダム化比較 第Ⅲ相医師主導治験

# 目次

[A. 治験の要約 3](#_Toc139778350)

[**1．治験の要約** 3](#_Toc139778351)

[B. 治験に関する一般的な説明 5](#_Toc139778352)

[**1．治験（ちけん）とは** 5](#_Toc139778353)

[**2．自由意思による治験の参加について** 7](#_Toc139778354)

[**2-1．治験の参加と参加を取りやめる場合について** 7](#_Toc139778355)

[**2-2．新たな情報のお知らせについて** 7](#_Toc139778356)

[**3．お問い合わせ先について** 7](#_Toc139778357)

[**4．治験中の費用について** 8](#_Toc139778358)

[**5．負担軽減費について** 8](#_Toc139778359)

[**6．この治験を審査した治験審査委員会について** 9](#_Toc139778360)

[**7．個人情報の保護について** 9](#_Toc139778361)

[**8．健康被害が発生した場合の補償について** 10](#_Toc139778362)

[C.　この治験に関する説明 11](#_Toc139778363)

[1．あなたの病気と治療について 11](#_Toc139778364)

[**2．治験薬について** 11](#_Toc139778365)

[**3．治験の目的** 12](#_Toc139778366)

[**4．治験の方法** 12](#_Toc139778367)

[**4-1．治験の参加基準** 12](#_Toc139778368)

[**4-2．治験の手順** 13](#_Toc139778369)

[**4-3．治験のスケジュール** 14](#_Toc139778370)

[**5．予測される利益および不利益** 17](#_Toc139778371)

[**5-1．予測される効果について** 17](#_Toc139778372)

[**5-2．予測される副作用または有害事象について** 17](#_Toc139778373)

[**5-3．予測される不利益について** 18](#_Toc139778374)

[**6．この治験に参加しない場合の他の治療法について** 19](#_Toc139778375)

[**7．この治験を中止する場合について** 20](#_Toc139778376)

[**8．治験期間中、あなたに守っていただきたいこと** 20](#_Toc139778377)

[D. 追加および詳細情報 22](#_Toc139778378)

[**1.** **来院回数を減らした治験について** 22](#_Toc139778379)

[**2.** **補償制度の概要** 23](#_Toc139778380)

[同意文書 25](#_Toc139778381)

# A. 治験の要約

## **1．治験の要約**

この治験についての要約です。詳細は、それぞれ本文をご覧ください。

|  |
| --- |
| 治験の概要 |
| 対象となる病気//症状（C-1 p.11）  | ●●● |
| 目的（C-3 p.12）  | ●●●の治療におけるXXXの効果や安全性を調べること （第３相試験） |
| 治験薬の剤形、投与（使用）方法、用法（C-4 p.14）  | 粉薬（1回1包を１日２回\*、経口又は等から投与）  \*開始から3週間は1日1回1包 |
| 参加予定期間と流れ （C-4 p.13-16）  | 治験の開始から終了まで約28週間治験実施医療機関（▲▲病院）の受診：３回**オンライン診療：８回（うち４回は訪問看護師の訪問を伴う）** |
| 参加予定人数  | 約１５０人 |
| 治験責任医師 | ▲▲病院　脳神経内科　■■　■■ |
| 治験中の費用＜医師主導治験で負担する範囲：あなたの負担はありません＞（B-4 p.88） | 対象期間中の以下の費用は、医師主導治験を実施するための研究費からお支払いします。対象期間：治験薬投与開始日～最終観察日または中止決定日* **治験薬の費用（ご自宅への配送料を含む）**
* **訪問看護に係る費用**
* 保険診療の範囲外となる検査費用
 |
| 治験中の費用＜保険診療での負担範囲：一部があなたの負担となります＞（B-4 p.8） | 以下の費用は、あなたが加入している健康保険に応じた自己負担となります。* 初診料・再診料**（オンライン診療を含む）**
* 保険診療の範囲内となる検査費用
* 治験薬以外のお薬代や治療費
 |
| 負担軽減費 ＜参加に伴うあなたへのお支払い＞（B-5 p.8） | 治験のための来院1回、あるいは**治験のためのオンライン診療**1回につき10,000円対象期間： 治験参加同意日から最終観察日まで支払い方法：月ごとにまとめて、あなたの指定する金融機関の口座に、翌月に振り込まれます。 |
| 治験審査委員会 （B-6 p.89） | 名称：　▲▲病院治験審査委員会種類： 治験審査委員会設置者：　▲▲病院　院長　所在地：　福岡県筑前市博多区9-9-9 治験審査委員会の手順書、委員名簿、会議記録の概要などについては「▲▲病院ARO次世代医療センター　ホームページ（https://XXX.XXX.jp/）」に掲載しています。 |
| お問い合わせ先 （B-3 p.7） | 治験責任医師診療科： 　脳神経内科　　　　　　　　　　　　　氏名： 　　■■　■■　　　　　　　　　　　　　　連絡先： 092-000-0000（代表）E-mail：　XXX@chikuzen-u.ac.jp相談窓口臨床研究コーディネーター連絡先： 092-000-0000（代表）平日9時～17時　治験管理室（内線：0000）夜間・休日　（内線：0000） |

# B. 治験に関する一般的な説明

## **1．治験（ちけん）とは**

私たちは、ケガや病気になったときにお薬を服用するなどの治療を受けています。この「くすり」が世の中に出るためには、最初に「くすりの候補」となる化合物の性質を調べ、動物でどのような作用があるかなどを調べます。そして最終的には、健康な人や患者さんの協力を得て、人の病気の治療に役立つかどうかを確かめる必要があります。

このように、健康な人や患者さんに「くすりの候補」を実際に使っていただいて、人での効果（有効性）や副作用（安全性）について調べ、国（厚生労働省）から「くすり」として承認を受けるために行う臨床試験のことを「治験」といい、治験で使われる「くすりの候補」を「治験薬」といいます。治験は通常の医療とは異なり、研究的な側面があるため、細心の注意を払いながら進めます。そのため、来院回数や検査が増える可能性があります。

また、治験への参加は、参加する方の自由意思に基づいて、人権と安全が最大限に守られなければなりません。そのため、治験は厚生労働省が定めた基準（医薬品の臨床試験の実施の基準［GCP：Good Clinical Practice］）に従って行われます。この基準に従って、治験審査委員会（「6. この治験を審査した治験審査委員会について」で説明します）で審査を行い、この治験の当院での実施が承認されています。

**治験のながれについて**

「くすりの候補」は、動物での有効性や安全性を確認してから「治験」に進みます。治験は、通常３つの段階があり、各段階で有効性や安全性を確認しながら進めます。

そして治験で得られた結果は、厚生労働省から「くすり」として承認を受ける際に提出する資料となります。



抗がん剤の場合など、第1相試験で患者さんを対象にすることもあります。

出典：日本医師会　（<https://www.med.or.jp/doctor/jmacct/jmacctinfo/002025.html>）

## **2．自由意思による治験の参加について**

### **2-1．治験の参加と参加を取りやめる場合について**

この治験への参加に対して同意するかどうかは、あなたの自由な意思でお決めください。治験に参加していただける場合は、同意文書に署名していただきます。治験の参加に同意した後でも、理由に関係なく、いつでも参加を取りやめ、中止することができますので、治験担当医師や臨床研究コーディネーターにご相談ください。治験の参加に同意しない、または治験参加中に中止した場合でも、あなたは一切不利益を被ることなく、あなたの病状に合った治療を受けることができます。

ただし、あなたが治験の途中で参加を取りやめることになった場合でも、中止するまでのデータはあなたからの申し出がない限り使用させていただきますので、ご了承ください。なお、お申し出いただいた時点で、すでに同意を撤回する前のデータが解析されていたり、治験の結果が公表されたりしている場合は、得られた結果については削除することができないことがあります。

### **2-2．新たな情報のお知らせについて**

治験の参加期間中に、この治験薬について新しい重要な情報が得られた場合は、速やかにあなたにお知らせします。継続して治験に参加されるかどうか、その都度あなたのご意思を確認させていただきます。

## **3．お問い合わせ先について**

この治験について、分からないことや、さらに聞きたいこと、また何か心配なことがありましたら、どんな些細なことでもご遠慮なく治験担当医師または臨床研究コーディネーターにお尋ねください。ご家族などに相談していただいてもかまいません。

そして、この治験の内容をよく理解していただき、十分に検討してから治験への参加をお決めください。治験に参加していただけるようでしたら、同意文書にご署名の上、この説明文書と同意文書は大切に保管してください。

|  |  |
| --- | --- |
| 問い合わせ先  | 治験責任医師診療科： 　脳神経内科　　　　　　　　　　　　　氏名： 　　■■ ■■　　　　　　　　　　　　　　連絡先： 092-000-0000（代表）E-mail：　XXX@chikuzen-u.ac.jp相談窓口臨床研究コーディネーター連絡先： 092-000-0000（代表）平日9時～17時　治験管理室（内線：0000）夜間・休日　（内線：0000） |

## **4．治験中の費用について**

この治験で使用する治験薬の費用、**訪問看護に係る費用**、一部の検査費用は医師主導治験を実施するための研究費からお支払いするため、あなたの費用負担はありません。ただし、初診料や再診料、検査費用（一部を除く）、あるいはこの治験の対象疾患の治療以外の薬の費用などは、通常の診療分をあなたが加入している健康保険で負担していただくことになります。

|  |  |
| --- | --- |
| 治験中の費用＜医師主導治験で負担する範囲＞あなたの負担はありません | 対象期間中の以下の費用は、医師主導治験を実施するための研究費からお支払いします。対象期間：治験薬投与開始日～最終観察日または中止決定日* **治験薬の費用（ご自宅への配送料を含む）**
* **訪問看護に係る費用**
* 保険診療の範囲外となる検査費用
 |
| 治験中の費用＜保険診療での負担範囲＞一部があなたの負担となります | 以下の費用は、あなたが加入している健康保険に応じた自己負担となります。* **初診料・再診料（オンライン診療を含む）**
* 保険診療の範囲内となる検査費用
* 治験薬以外のお薬代や治療費
 |

**また今回の治験では、治験への同意や治験中の状態観察のために、あなたのスマートフォンやタブレット端末等を使用いただくことがあります。その際にかかる通信費は、あなたの負担となります。**

## **5．負担軽減費について**

治験に参加していただくと、治験のスケジュールどおりに診察や検査を受けていただくために通常の診療よりも受診の回数が多くなることがあります。そのため、治験参加に伴う交通費などの負担を軽減する目的で、治験のための来院ごとに、事前に決められた金額をお支払いいたします。また、**オンライン診療の受診料や治験のためのスマートフォンの利用等にかかる通信費用の負担を軽減する目的で、オンライン診療を実施した日についても、事前に決められた金額をお支払いします。**

これらの費用は、「負担軽減費」といわれており、受け取る、受け取らないはあなたの自由な意思で決定することができます。

この治験における負担軽減費は以下のとおりです。

|  |  |
| --- | --- |
| 負担軽減費 ＜参加に伴うあなたへのお支払い＞ | 治験のための来院1回、あるいは**治験のためのオンライン診療**1回につき10,000円対象期間： 治験参加同意日から観察期間終了まで支払い方法：月ごとにまとめて、あなたの指定する金融機関の口座に、翌月に振り込まれます。 |

## **6．この治験を審査した治験審査委員会について**

治験を行う際は、厚生労働省が定めた治験の基準（医薬品の臨床試験の実施の基準：GCP）に従うことになっており、治験を実施する医療機関の長（当院長）は、この治験の実施について「治験審査委員会」の意見を聴くことが求められています。

「治験審査委員会」は、医療機関の長から依頼された治験について、参加される患者さんの人権や安全性などに問題ないかを科学的・倫理的観点などから調査・審議するために設置されており、医療または臨床試験に関する専門的知識を有する人やこれらの専門以外の人、医療機関と利害関係のない人から構成されています。

治験審査委員会に関してお問い合わせがある場合には治験担当医師または臨床研究コーディネーターへお申し出ください。

この治験については、以下の治験審査委員会により審査を受け、承認されています。

|  |  |
| --- | --- |
| 治験審査委員会  | 名称：　▲▲病院治験審査委員会種類： 治験審査委員会設置者：　▲▲病院　院長　所在地：　福岡県筑前市博多区9-9-9 治験審査委員会の手順書、委員名簿、会議記録の概要などについては「▲▲病院ARO次世代医療センター　ホームページ（https://XXX.XXX.jp/）」に掲載しています。 |

## **7．個人情報の保護について**

治験がきちんと行われているか、記録されているデータが正確であるかを調べるために、開発業務受託機関のモニタリング担当者や監査担当者、厚生労働省などの国内規制当局とその関連機関、ならびにこの治験の審査を行う治験審査委員会が、あなたのカルテや臨床検査の記録などを閲覧する場合があります。しかし、これらの関係者には個人情報に関わる法律、規制、ガイドライン等に基づいて保護され、それを守る義務が課せられていますので、あなたのお名前や住所などプライバシーに関わることが、他人に漏れることは決してありません。

治験に参加される前の検査結果の一部やこの治験で収集したデータは、治験薬提供者である○○製薬会社に報告されます。これらのあなたから得られたデータは、○○製薬会社から、医薬品としての許可を得るための資料として厚生労働省など国内外の規制当局へ提出されます。また、治験の結果が学会や医学雑誌などに公表される場合もあります。その場合も同様にあなたのお名前や住所などの情報は分からないようにいたします。具体的には、あなたのお名前を使わず、符号や数字など識別コードに置き換え（コード化）管理されます。治験により得られたデータおよびこの治験のためにあなたから提供された血液や尿などの検体が、手続きなしに他の目的で使用されることはありません。検査を終えた検体などは、治験終了後または保管期間が終了した後に、個人情報を保護した状態で速やかに廃棄いたします。なお、一部の血液検体は治験終了後も保管を継続しますが、その検体を他の研究で使用する場合には、改めて倫理審査委員会へ申請し、承認を得た後に使用します。

**またこの治験は、あなたが治験実施医療機関を受診する回数をなるべく減らすために、訪問看護師によるご自宅の訪問や、ご自宅での血液検査、ご自宅への治験薬の配達などを行います。そのため、あなたのご住所やお名前を、治験実施医療機関以外の各業務担当者に知らせる必要があります。このことについては22ページに詳しく記載していますので、こちらもよくお読みください。**

あなたが治験参加の同意文書に署名されることによって、これらについてご了承していただいたことになります。

## **8．健康被害が発生した場合の補償について**

この治験はこれまでの結果に基づき科学的に計画され慎重に行われますが、万一、この治験に関連してあなたに重大な副作用が起きたり、健康が損なわれたりした場合には、治験担当医師が最善を尽くして適切な治療にあたります。また、健康被害の内容や程度に応じて、治験依頼者の補償を受けることができます。ただし、その健康被害がこの治験と全く関係がない場合、または治験担当医師の指示を守っていただけなかった場合などあなた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。

この補償制度は、あなたの損害賠償請求権を妨げるものではありません。

補償に関しご質問などがありましたら、治験担当医師または臨床研究コーディネーターにお尋ねください。

# C.　この治験に関する説明

# **1．あなたの病気と治療について**

　●●●は、脳との運動神経が障害され、手足・のど・舌の筋肉や、呼吸に必要な筋肉がやせて力がなくなっていく病気です。多くの場合、身体の一部分から筋肉のやせと筋力の低下がはじまり、病気の進行とともに症状が広がり、身体が動かせなくなったり、水分や食事をうまくのみ込めなくなったり、息切れがでてきたりします。進行のはやさには個人差がありますが、多くの方が、病気になってからおおよそ2～5年のうちに自力で呼吸をすることが難しくなり、生命を維持するためには人工呼吸器が必要となります。

現在、●●●に対して保険診療で行える治療法には、病気の進行を遅らせるお薬（リルゾール、エダラボン）や、ロボットスーツを用いたリハビリテーションなどがありますが、効果が期待できる患者さんが限られていることや、必ずしも十分な効果が得られないことから、新しい治療法の開発が待ち望まれています。

## **2．治験薬について**

　今回の治験薬であるXXXは、『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』という２つの成分を含んだお薬（）です。●●●の原因はまだ十分に解明されていませんが、これらの２つの成分は細胞内の\*1とミトコンドリア\*2の機能を助ける作用があり、●●●患者さんの運動神経細胞の障害をやわらげると考えられています。

　これまでにアメリカ合衆国の●●●患者さんを対象に、XXXと同じ『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』の合剤を使った治験が行われ、病気の進行を遅らせる効果を認めたことが報告されています。このお薬は、2022年にカナダとアメリカ合衆国で●●●の新しいお薬として国に認められました。日本人の●●●患者さんを対象とした『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』の合剤の治験は、今回が初めてとなります。

XXX

## **3．治験の目的**

　本治験の目的は、「XXX」が、日本人●●●患者さんの病気の進行にどのような効果をもたらすかを明らかにすることです。また、安全に投与を継続することができるかどうかを確かめることです。

## **4．治験の方法**

### **4-1．治験の参加基準**

　この治験に参加していただくためには、いくつかの基準があります。

　≪治験に参加いただける基準≫

1. 18歳以上、80歳未満の日本人の方。
2. ●●●の診断基準の一定以上を満たす方。
3. 治験参加に同意される時点で●●●の症状が出現してから18カ月以内の方。
4. 本人の自由な意思により本治験への参加について同意いただける方。
5. 肺活量が基準値以上の方。
6. リルゾールを内服していない方。内服している場合は、治験参加に同意される30日前から内服量を変更していない方。
7. エダラボンを使用していない方。使用している場合は、治験参加に同意される60日前から投与方法や量を変更していない方。
8. 治験中と治験薬投与が終わってから3カ月間、避妊に同意いただける方。
9. **本治験の手順に従うことができる方（電子端末を使用した同意や、オンライン診療等のためのスマートフォン又はタブレット端末の操作を含む。介助者によるセッティングや操作の補助、入力補助装置の使用等により操作が可能であれば可。）**

　≪治験に参加いただけない基準≫

1. 気管切開を受けた方。
2. 治験薬と同じ成分を含むお薬を、治験開始前3ヶ月以内に投与された方、又は治験期間中に投与される予定がある方。
3. 治験薬の成分に対してアレルギーがある方。
4. 肝臓又は腎臓の機能低下がある方。
5. コントロール不良の高血圧がある方。
6. 妊娠中又は授乳中の女性。
7. 胆嚢を摘出後の方、胆嚢・胆管・膵臓・腸に疾患がある方。
8. 重度の心不全の既往がある方。
9. 病状が不安定な精神疾患、認知機能の低下、薬物乱用がある方。
10. 悪性腫瘍を合併している又は3年以内に悪性腫瘍の既往がある方。
11. 過去に●●●の治療を目的とした細胞治療又は遺伝子治療を受けたことがある方。
12. 治験参加に同意される前90日以内に、●●●の治療を目的としてモノクローナル抗体の投与を受けた方。
13. 横隔膜ペーシングシステムを植え込まれている方。
14. 治験薬との併用が禁止されている治療を受けている方。
15. 他の臨床試験に参加中の方。
16. 本治験に参加した場合、安全性上のリスクが増大すると治験担当医師が判断する場合。

　　その他、いくつかの基準がありますが、診察や検査の結果から、治験担当医師が判断しますので、詳しくは治験担当医師にお尋ねください。

### **4-2．治験の手順**

1) 治験参加の同意をいただいたら、治験実施医療機関（▲▲病院）を受診いただき、検査や問診で、参加可能な基準を満たすかどうかの確認（スクリーニング）を行います。

2) 今回の治験は、「プラセボ対照」 「無作為化割付」　「二重盲検」試験です。参加の基準を満たすことが確認されたら、治験へ登録され、「XXX」を内服するグループか、「プラセボ」を内服するグループに分けられます。

* 「プラセボ」とは、見た目は「XXX」と同じですが、有効成分が含まれていないものをいいます。
* あなたがどちらのグループになるかは、あなた自身や治験担当医師が選ぶことはできません。「無作為化（ランダム化）」という方法により、３分の２の方が「XXX」に、３分の１の確率で「プラセボ」のグループに決定されます。
* 「XXX」の効果や安全性を正確に評価するために、あなたがどちらのグループに分けられたのか、治験期間を通じて治験担当医師にもあなたにも分からないようになっています（二重盲検）。どちらのグループかが分かると、治験担当医師あるいは患者さんの先入観により正確なお薬の評価ができなくなるからです。ただし緊急時に治験担当医師が割り当てられたグループを知る必要が生じた場合は、ただちにどちらのグループか分かるようになっています。

3) 「XXX」または「プラセボ」は、いずれも粉薬です。ご自宅で、治験開始から3週間は１日１回１包を食前に、その後は１回１包を１日２回食前に、内服いただくか、胃瘻などから投与します。

4) 観察期間中は、治験のスケジュールに従って診察や検査を受けていただきます。**一部の診察と検査は、治験実施医療機関の治験担当医師とあなたのスマートフォンやタブレット端末をつなぐシステムを用いて、遠隔診療で行います。また訪問看護師がご自宅を訪問し、状態観察、内服状況の確認、採血等を行います。**

**5) 観察期間中、1～2ヶ月に1度、ご自身のスマートフォンやタブレット端末等から5つの質問に回答していただきます。**

### **4-3．治験のスケジュール**

治験期間中に行う検査等の内容は下記のとおりです。 実施日は、 16ページのスケジュール

表をご覧ください。

|  |  |
| --- | --- |
| 項目 | 内容 |
| 病歴・既往歴・合併症等の確認 | ●●●の症状がいつ頃体のどこにでたか、●●●に対する治療歴、●●●以外の治療中の病気、これまでにかかったことがある病気、内服しているお薬、アレルギーの有無などをお尋ねします。 |
| 身長・体重 | 身長と体重を測定します。 |
| バイタルサイン | 体温、血圧、脈拍、呼吸数、酸素飽和度を測定します。 |
| 血液検査 | 治験薬による影響の有無を確認するため、採血を行います。1回の採血量は、約10mLです。測定する検査項目は下記です。［血算］赤血球数、ヘモグロビン、ヘマトクリット、白血球数、白血球分画、血小板数［生化学］総蛋白、アルブミン、ビリルビン、AST、ALT、ALP、LDH、g-GTP、尿素窒素、クレアチニン、C反応性蛋白、Na、K、Cl、グルコースまた、●●●のバイオマーカー#1と考えられているニューロフィラメントを測定します。#1バイオマーカー： 病気の診断、病状の変化、治療効果の指標となる生体内の物質のことです。 |
| 尿検査 | 健康状態の観察と治験薬による影響の有無を確認するため、尿蛋白と尿潜血の検査を行います。 |
| 妊娠検査 | 妊娠可能な女性のみ、尿で検査を行います。 |
| 心電図 | 手足と胸に電極をつけ、仰向け（あおむけ）で心電図を記録します。 |
| 肺機能検査 | 大きく息を吸ったりはいたりして、肺活量を測定します。 |
| 身体機能評価スコア | ●●●の病状を評価するために、会話や飲み込みの状態、手足の運動機能（書字や着衣、身の回りの動作、歩行、階段昇降などができるか）、呼吸状態などを確認します。 |
| 併用薬・併用療法の確認 | 治験薬以外で、あなたが使用した薬や受けた治療について確認します。 |
| 有害事象の確認 | あなたの体調によくないことが起こっていないかを確認します。 |
| **QOL#2に関する質問** | **●●●によりあなたに生じるかもしれない問題に関する５つの質問に、スマートフォン又はタブレット端末等から回答していただきます。****#2 QOL (Quality of Life)：治療や療養生活を送る患者さんの肉体的、精神的、社会的活動等、すべてを含めた生活の質のことです。** |

**スケジュール表**

水色は治験実施医療機関を受診いただく日、ピンク色はご自宅で訪問看護師の訪問とオンライン診療を受けていただく日、緑色はご自宅でオンライン診療を受けていただく日（訪問看護師の訪問はなし）です。

## **5．予測される利益および不利益**

### **5-1．予測される効果について**

 アメリカ合衆国で行われた『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』の合剤の臨床試験では、137名の方に実薬（有効成分を含むお薬）又はプラセボが投与され、実薬を投与されたグループのほうが、プラセボを投与されたグループよりも、観察期間中（24週間）の身体機能が低下するスピードが遅くなった、という結果でした。さらに、より長期的な投与により、お亡くなりになるまでの期間や人工呼吸器を使用するまでの期間が長くなることが報告されています。

　欧米の●●●患者さんと日本の●●●患者さんは遺伝的な背景が異なりますが、症状や経過は類似しており、日本人の●●●患者さんについても、『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』の合剤により、症状の進行を遅らせることができると期待されます。

### **5-2．予測される副作用または有害事象について**

『フェニルブチレート』は、日本では「尿素サイクル異常症」という病気のお薬として既に承認されています。おもな副作用は月経障害、体重増加、嘔吐、（本来の味とは違って感じる状態）などですが、●●●患者さんに対して『フェニルブチレート』のみを投与した海外の臨床試験では、今回の治験で使用する量の3倍以上の投与量でも安全性に大きな問題がないことが確認されています。

『タウロウルソデオキシコール酸』は漢方で用いられる「」の主成分で、海外では肝機能改善を目的としたサプリメントとして販売されています。おもな副作用は軽度の腹痛や下痢などがありますが、●●●患者さんに対して『タウロウルソデオキシコール酸』のみを投与した海外の臨床試験では、今回の治験で使用する量と同じ投与量で、安全性に大きな問題がないことが確認されています。

アメリカ合衆国で行われた『フェニルブチレート』と『タウロウルソデオキシコール酸』の合剤の治験では下記のような§1がみられましたが、な副作用§2はありませんでした。

　§1 『有害事象』とは、治験期間中に起きたすべての好ましくない症状・病気・検査値の異常等のことで、治験のお薬が原因と考えられるものも、そうでないものも含みます。

§2 『副作用』は、有害事象のうち治験のお薬が原因であるものをいいます。

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | 頻度が高い有害事象 | 頻度が比較的高い有害事象 | まれな有害事象（5%未満） |
| 消化器症状 | 下痢、便秘、嘔気 | 腹痛、腹部不快感、口喝 | 嚥下障害、腹部膨満感、嘔吐 |
| 骨格筋等の症状 | 筋力低下 | 背部痛、筋痙攣、関節痛、筋肉痛 |  |
| 神経系の症状 |  | 頭痛、めまい |  |
| 感染症 |  | 上気道炎、尿路感染 |  |
| 呼吸器系の症状 |  | 呼吸困難、呼吸不全 |  |

### **5-3．予測される不利益について**

　本治験に参加中は治療について下記のような制限があります。

1. XXXとの併用により胆汁又は腎機能に影響を及ぼす可能性がある下記のお薬は内服できません。

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| 一般名 | 商品名 | 適応症 |
| バルプロ酸ナトリウム | ◆◆◆、◆◆◆等 | てんかん、うつ、片頭痛の予防等 |
| ボリノスタット | ◆◆◆ | 皮膚T細胞リンパ腫 |
| ロミデプシン | ◆◆◆ | T細胞リンパ腫 |
| ツシジノスタット | ◆◆◆ | T細胞リンパ腫 |
| パノビスタット | ◆◆◆ | 多発性骨髄腫 |
| 炭酸リチウム | ◆◆◆、◆◆◆等 | うつ病、躁うつ病 |

1. ●●●に対して臨床試験が行われており、有効性評価に影響を及ぼす可能性がある下記お薬の内服または治療法はできません。

|  |  |
| --- | --- |
| 一般名等 | 商品名 |
| ピオグリタゾン | ◆◆◆ |
| アリモクロモル | － |
| オランザピン | ◆◆◆、◆◆◆等 |
| タモキシフェン | ◆◆◆、◆◆◆ |
| メキシチレン | ◆◆◆、◆◆◆等 |
| ラサギリン | ◆◆◆ |
| マシチニブ | － |
| ボスチニブ | ◆◆◆ |
| プラミペキソール | ◆◆◆、◆◆◆等 |
| メコバラミン（1週間当たり25㎎以上の投与） | ◆◆◆、◆◆◆等 |
| 横隔膜ペーシング | － |

1. 胆汁酸を吸着する作用がある以下のお薬は内服できません。

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| 一般名 | 商品名 | 適応症 |
| プロベネシド | ◆◆◆ | 痛風 |
| コレスチラミン | ◆◆◆ | 高コレステロール血症 |
| コレセベラム塩酸塩 | ◆◆◆ | 糖尿病 |

1. ●●●の進行を遅らせるお薬として承認されている下記お薬は、本治験への参加時に使用している場合は、同じ量・同じ投与方法であれば治験期間中も継続いただけます。ただし、参加時に使用していない場合、治験の途中から下記のお薬をはじめることはできません。

　　　　　　リルゾール（商品名：◆◆◆、◆◆◆等）、エダラボン（商品名：◆◆◆）

1. ●●●に対して保険診療で実施可能なロボットスーツ◆◆◆を使用したリハビリテーションを行うことはできません。
2. 治験薬の吸収を阻害するため、水酸化アルミニウム又は酸化アルミニウムを含む薬剤の内服は、治験薬の内服2時間後は避けていただく必要があります。

　　 （例）商品名： ◆◆◆、◆◆◆、◆◆◆、◆◆◆、◆◆◆、◆◆◆、◆◆◆

1. その他

治験期間中は通常の診療に比べ、来院回数や検査の回数が増える可能性があります。また、**決められたスケジュールと方法で、ご自宅でオンライン診療や訪問看護師の訪問をうけたり、QOLに関する質問へ回答したり、治験薬の受け取りと返却を行っていただく必要があります。**

## **6．この治験に参加しない場合の他の治療法について**

　この治験に参加されない場合は、以下のような治療を行います。これらの治療は、患者さんの状況にあわせて、実施するかどうかを相談していきます。なお「〇」がついた治療法については、この治験に参加された場合でも実施可能です。

* 病気の進行を遅らせる、または身体機能を維持することが目的の治療
* リルゾール：●●●の進行を遅らせる内服薬です。肝機能障害がおこることがあります。
* エダラボン：●●●の進行を遅らせるお薬です。点滴用のお薬と、内服用のお薬があります。治療効果が期待できるのは発症早期で呼吸機能が保たれている患者さんです。
* ロボットスーツを用いたリハビリテーション：歩行をサポートする装置をつけてリハビリテーションを行います（実施できる医療機関は限られます）。
* 症状を和らげるための治療
* 関節の痛みや拘縮を予防するためのリハビリテーション〇
* 唾液の分泌を抑えるお薬〇
* 呼吸苦を和らげるお薬〇
* 栄養や呼吸を補助するための治療
* 胃瘻〇：飲み込みが悪くなり十分な食事がとれなくなった場合、胃（又は腸）に直接栄養剤を注入できるようなチューブを入れる方法です。
* 人工呼吸器：呼吸が苦しくなってきた場合、マスクをつけたり喉を切開したりして、機械的に肺に空気を送り込み、呼吸器を補助する方法です。

　　　　　　 　※1日23時間未満のマスクを使用するタイプの人工呼吸器の使用は〇

## **7．この治験を中止する場合について**

　あなたに治験参加の同意をいただいた後でも、次のような場合には、治験に参加いただけなかったり、治験を中止したりすることがありますので、ご了承ください。

1. 治験担当医師が、あなたの状態により、この治験を続けることが難しいと判断した場合
2. あなたから中止の申し出があった場合
3. あなたの状態が治験に参加するための基準を満たしていないことが分かった場合
4. 気管切開を受けた場合、または1日に23時間以上、人工呼吸器使用するようになった場合
5. 治験期間中の実施が禁止されている治療を実施した場合
6. あなたの事情により、治験に必要な検査や診察の実施ができなくなった場合
7. その他、治験担当医師が治験の中止を必要と判断した場合

　　　　治験薬を使用した後に治験の参加を中止する場合には、あなたの健康状態を確認するための検査を受けていただくことがありますので、ご承知おきください。

## **8．治験期間中、あなたに守っていただきたいこと**

あなたの安全を確保するため、また治験薬の有効性や安全性を正しく評価するために治験に参加していただいている間は、次のことを必ずお守りください。

1. **治験担当医師の指示どおり、診察・検査・治療を受けてください。決められたスケジュールどおりに診察（オンライン診療を含む）や訪問看護師による訪問を受けられない場合は、必ずご連絡ください。**
2. **治験担当医師の指示どおり、ご自宅に配達される治験薬の受け取りを行ってください。配達予定日にお薬の受け取りができなくなった場合は、必ずご連絡ください。また余った治験薬は郵送で返却または治験実施医療機関へ持参して返却していただきます。捨てずに、どちらの方法で返却するかは、治験担当医師の指示に従ってください。**
3. 治験薬を1日1回内服中の期間に飲み忘れに気づいた場合、同日内であれば次の食前又は空腹時に内服してください。　1日2回内服中の期間に飲み忘れに気づいた場合、次回の内服時間までに6時間以上空いている場合は、食前又は空腹時に内服してください。次回の内服までの時間が6時間未満であれば、内服はしないでください。決められた回数を内服できなかった日があった場合は、次回受診時に治験担当医師に伝えてください。
4. いつもと体調が違うと感じられた場合は、いつでもご連絡ください。
5. 現在、他の医師の診察や他の医療機関を受診されている場合や、現在使用しているお薬（他の病院から処方されているものを含む）・健康食品・サプリメントなどがある場合は、事前にお伝えください。
6. 治験に参加されている間、他の医師の診察や他の医療機関を受診される場合、また薬局でお薬を購入される場合は、あらかじめ治験担当医師にご相談ください。緊急の場合などであらかじめ相談できないときは、「治験参加カード」を提示して、治験に参加していることを必ずお伝えください。その後、当院にお知らせください。
7. 治験薬は胎児への安全性が確認されていませんので、男女問わず、治験開始から治験終了後3ヶ月間、適切な避妊が必要となります。治験参加中に、あなたもしくはあなたのパートナーが妊娠された場合は、すぐにご連絡ください。その後の妊娠経過などの情報を提供していただくことがあります。
8. 住所や電話番号など連絡先が変更になる場合は、必ずお知らせください。
9. この治験に関する情報は、治験依頼者の機密情報となりますので、SNSなどに掲載するのはご遠慮ください（治験薬の写真掲載なども含みます）。

# D. 追加および詳細情報

## **来院回数を減らした治験について**

**この治験は、あなたの通院負担をなるべく減らすために、治験実施医療機関（▲▲病院）を受診いただく回数ができるだけ少なくなるように計画されています。そのため、インターネットを使用して、治験への参加に同意いただいたり、オンライン診療を行ったり、治験期間中の測定データの送信を行ったりします。これらのシステムから情報が外部に漏れたり、外部から不適切なアクセスをされたりしないよう、厳重なセキュリティ管理を行いますが、医療機関に対するサイバー攻撃等による個人情報の漏洩・改ざんや、オンライン診療・アプリ等の使用により発生する情報などの可能性はゼロではありません。**

**また、治験実施医療機関（（▲▲病院）の職員ではない訪問看護師が、あなたのご自宅を訪問して一部の検査（採血や採尿など）や状態観察を行います。そのため、担当する訪問看護ステーションに、あなたのお名前や住所、病名等を知らせる必要があります。そのほか、治験薬をご自宅まで配達する業者や、検体（血液や尿）を回収する業者にも、あなたのお名前や住所を知らせる必要があります。これらの治験実施医療機関（（▲▲病院）以外の関係者・関係業者へは、正式な契約を交わして業務を依頼し、個人情報に関わる法律、規制、ガイドライン等を守る義務が課せられますので、あなたのお名前や住所などプライバシーに関わることが、他人に漏れることはありません。**

**またプライバシーに関すること以外に、インターネットを活用して治験を行うことで下記のようなデメリットが考えられます。**

* **治験期間中の診察の約半分を、オンライン診療システムを使用して実施します。オンライン診療は、対面による診療と比べ患者さんの心身の状態について得られる情報が限られるため、診療行為に限界があります。安全性に問題がないと考えられる範囲でのオンライン診療のスケジュールとなっていますが、状況によっては予定外の受診をお願いする場合があります。**
* **治験への参加と治験期間中の参加継続の同意、治験期間中のQOLに関する質問への回答は、原則としてスマートフォンやタブレット端末等を使用して行っていただきます。操作方法の説明や可能な範囲で入力操作のお手伝いを行いますが、タイミングによっては、十分なサポートがない状況で、あなた自身で操作していただく可能性があります。**
* **治験期間中に必要な電子端末は、原則としてあなた自身のスマートフォンやタブレット端末、パソコン等を使用していただきます。利用できる電子端末をお持ちでない場合は、ご家族の電子端末またはご自宅に訪問する訪問看護師が準備する電子端末等を利用する、または（▲▲病院から貸し出すことも可能ですので、ご相談ください。**

**（▲▲病院の受診回数を減らすことで、あなたの移動の負担を減らせることがメリットですが、上記のようなデメリットもありますので、これらを踏まえた上でこの治験へ参加するかどうかを決めてください。**

## **補償制度の概要**

　この治験は、患者さんの安全を第一に慎重に進めますが、この治験に参加したことにより万が一健康被害が生じた場合に備えて、補償制度を準備しています。

 補償とは、あなたに健康被害が発生した場合に、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（国が定めた治験を実施するためのルール）の趣旨に基づいて、治験責任医師や治験実施医療機関に過失がない場合でも、あなたの損失を適切に補うものです。

この治験に参加したことにより、あなたに何らかの健康被害が発生した場合には、保険契約の支払条件に従って補償を行います。補償を受けることができるのは、健康被害の原因がこの治験（治験薬または研究計画書に定めた方法・手順等）にあると考えられる場合に限られます。これを、健康被害と治験との間に「因果関係がある」といいますが、健康被害の原因がこの治験にないと判断されない限りは「因果関係がある」ものとして扱われます。

* 補償の対象とならない主な場合

あなたの健康被害とこの治験との間に「因果関係がない」場合には、補償の対象となりません。補償の対象とならない例を下記に示します。

① 治験とは直接関係がない健康被害に対する補償（通院する途上で運転者の不注意により車にはねられ怪我をした場合など）

② 仕事を休んだことによって失われた給与に対する補償（休業補償など）

③ 治験薬が効かなかったことに対する補償

④ あなたの故意による健康被害に対する補償

⑤ 治験責任医師、治験実施医療機関、治験担当医師、その他第三者に法的責任がある場合には、補償の対象ではなく、健康被害に法的責任をもつ者が損害を賠償することになります。

* 補償を制限する場合

　健康被害があなたの重大な過失により生じた場合（嘘や偽りの申告をしたり、指示された用法・用量を守らなかったり、治験担当医師の指示に従わなかった場合など）は、補償の支払を減額されるか、補償が受けられないことがあります。

* 補償の内容

　補償の内容は、補償金（死亡補償金および後遺障害補償金）、医療費および医療手当です。支払限度額は別表をご参照ください。

① 補償金

a. 死亡補償金（死亡した場合）

b. 後遺障害補償金（別表の障害等級に該当する後遺障害が発生した場合）

② 医療費

　 この治験に参加したことによる健康被害の治療に要した治療費のうち、健康保険等からの給付を除くあなたの自己負担額を別表の支払限度額の範囲でお支払いします。ただし、差額室料等の自費分は、治療上必要な場合等、特別な理由の場合のみお支払いします。

③ 医療手当

　この治験に参加したことによる健康被害の場合に、医療費以外の諸手当として医薬品副作用被害救済制度に準じた金額を別表の支払限度額の範囲でお支払いします。

* 医療費および医療手当は、 本説明文書「5-2. 予測される副作用または有害事象について」に記載されている事象は対象となりません。
* 因果関係の判断

因果関係の判断および障害等級の認定については、治験担当医師等の意見を考慮のうえ、治験責任医師と治験実施医療機関が協議して決定します。あなたがこの治験と健康被害との因果関係について証明する必要はありません。治験責任医師と治験実施医療機関が因果関係の有無を合理的に判断し、因果関係が否定されない場合は、補償の対象となります。

因果関係の判断には時間を要する場合があります。判断できるまでの間、医療費等のお支払いを保留させていただく場合があります。

* 補償の手続

この治験に参加して健康被害が発生したと思われる場合には、治験担当医師または臨床研究コーディネーター等にご相談ください。あなたが補償を希望される場合、治験責任医師および治験実施医療機関において、健康被害と治験との因果関係を判断した上で、治験担当医師を通じて健康被害が補償の対象か否かについてご連絡します。

補償をお支払することになった場合には、必要に応じて補償金申請書、医療費支払明細書のコピー等締結する保険契約の保険会社が求める書類の提出、補償の振込先の銀行口座番号の連絡等をしていただきます。医療費・医療手当のお支払いまでには、通常、医療費等のご請求をいただいてから１～２か月かかります。また、補償金のお支払については健康被害の詳細な情報が必要になるため、それ以上の期間が必要となることがありますので、あらかじめご承知おきください。

より詳細な補償内容を知りたい場合は、治験担当医師または臨床研究コーディネーターにお尋ねください。

* 個人情報の取り扱い

　補償を行う上で、取得するあなたの個人情報については、「個人情報保護法」に基づき適切な管理および措置を行い、補償の支払以外の目的には使用しません。

# **同意文書**

治験課題名：日本人●●●患者に対するXXX投与の有効性及び安全性を検証するプラセボ対照、多施設共同二重盲検ランダム化比較 第Ⅲ相医師主導治験

私は治験担当医師から上記治験の内容について、説明文書に基づき十分な説明を受けました。その説明および説明文書の内容をよく理解した上で、この治験に参加することを私の自由意思によって同意いたします。その証として以下に署名し、本説明文書と同意文書の写しを受け取ります。

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| A. | 要約（参加予定期間と流れ、参加予定人数、治験依頼者含む） | C. | 1. あなたの病気と治療について2. 治験薬について3. 治験の目的4. 治験の方法5. 予測される利益および不利益6. この治験に参加しない場合の他の治療法について7. この治験を中止する場合について8. 治験期間中、あなたに守っていただきたいこと |
| B. | 1. 治験（ちけん）とは2. 自由意思による治験の参加について3. お問い合わせ先について4. 治験中の費用について5. 負担軽減費について6. この治験を審査した治験審査委員会について7. 個人情報の保護について8. 健康被害が発生した場合の補償について |
| D.  | 1. 来院回数を減らした治験について2. 補償制度の概要 |

|  |
| --- |
| 　**負担軽減費について**（どちらかにチェック ☑）**：**　　　□ 受け取る　　　　□ 受け取らない |

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| ご本人 |  | 同意日： 　20　 　 年 　　 月 　　 日 |  | 署名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 |
| 代筆者（該当する場合） |  | 同意日： 　20　 　 年　 　 月 　　 日 |  | 署名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 | 続柄：（　　　　　　） |
| 立会人（該当する場合） |  | 立会日： 　20　 　 年 　　 月 　　 日 |  | 署名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 |
| 医師 |  | 同意確認日： 　20　 　 年 　　 月 　　 日 |  | 署名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 |
| 補助説明者 |  | 同意確認日： 　20　　 年 　　 月 　　 日 |  | 署名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 |

**治験参加に伴う負担軽減費の振込先について**

治験課題名：日本人●●●患者に対するXXX投与の有効性及び安全性を検証するプラセボ対照、多施設共同二重盲検ランダム化比較 第Ⅲ相医師主導治験

あなたは治験参加の同意文書で、負担軽減費の受け取りを希望されましたので、振込先のご指定をお願いいたします。

記載内容に誤りがありますと、振込ができませんので、正確にご記入ください。

また、確認のために、通帳表紙やキャッシュカードのコピーなどをご提出いただく場合や、臨床研究コーディネーターが番号を確認させていただくことがあります。

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| 金融機関 | 　　　　　　　　　　銀行 ・ 信用金庫 ・ 農協 | 支　店 | 　　　　　　　　店 |
| 預金種別 | 普　通　　・　　当　座 | 口座番号 |  |  |  |  |  |  |  |
| 口座名義 | フリガナ |
|  |
| **※口座名義人が患者さん本人でない場合は、以下ご記入ください。** |
| 理由：ご署名：　　　　　　　　　　　　　（続柄：　　　　　　）　　　　　　　　　　　　　　 |