



国立精神・神経医療研究センター
バイオバンク

(倫理指針に則る情報公開)

～次世代の医療のために～

以下の研究は、皆様よりNCNPバイオバンクに提供いただいた臨床試料（検体、おもに血液・髄液等）と臨床情報の利用を倫理委員会で審査され、活用していただくことが認められた研究です。

この研究について知りたいことや、気になる点がありましたら、遠慮なく下記のバイオバンク窓口にご相談ください。ただし、個人情報の保護、知的財産権の保護により、ご対応・ご回答できない場合がありますので予めご了承ください。

- ・本研究への協力を望まれない場合は、問い合わせ窓口へご連絡ください。
- ・研究に協力されない場合でも不利益な扱いを受けることは一切ございません。

【対象となる方】

「筋疾患診断支援と筋レポジトリーの構築」において承認を受けた方法により、国立精神・神経医療研究センター筋レポジトリーにおいて保存されている試料のうち、デュシェンヌ型筋ジストロフィー遺伝子の特定の変異を有する方の試料

【研究課題名】

In vitro efficacy studies using primary DMD-patient derived cells

【研究責任者】

Usue Etxaniz Irigoien (Avidity Biosciences, Inc.)

【本研究の目的及び意義】

Avidity Biosciencesは、核酸医薬品を様々な臓器に送達させるテクノロジーとして、独自技術であるAntibody oligonucleotide conjugate（抗体オリゴヌクレオチド複合体）を開発している。デュシェンヌ型筋ジストロフィーでは、変異を起こしているエクソンを飛ばして次のエクソンを翻訳するエクソンスキップという方法による治療法が試みられてきた。本研究の目的は、Avidity社で開発された治療候補薬のエクソンスキップの効果を患者筋細胞を用いて実証することである。

【本研究に提供する試料・情報】

筋細胞

性別、年齢、診断名、筋生検実施部位

【研究期間】

2021年12月7日から2024年10月31日まで

2022年3月

(問い合わせ窓口)

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター バイオバンク

所属 メディカル・ゲノムセンター バイオリソース部

電話番号 042-346-3520 E-mail: biobank※ncnp.go.jp (※を@に変更してください)