



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】

1997年7月以降にご同意いただいた方で
デュシェンヌ型筋ジストロフィーと診断された方

【研究課題名】

デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者細胞を用いたエクソン・スキップ治療剤の薬効評価研究

【研究責任者】

青木吉嗣(神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

【本研究の目的及び意義】

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を対象にしたエクソン・スキップはDMDの有効な治療薬になることが期待されています。本研究では治療薬の候補となる物質の有効性を確認することを目的としています。DMD患者さん由来の細胞を用いることで、治療薬の候補となる物質がその患者さんにとって有効かどうか調べることが可能です。本研究の成果は新たなDMD治療薬の開発につながることを期待されます。

【本研究に提供している試料・情報】

筋芽細胞

【研究期間】

2022年8月15日～2023年3月31日

【試料・情報等扱う機関】

ユーロフィンジェノミクス株式会社

【備考】

本研究は日本新薬（株）との共同研究であり、日本新薬（株）の研究員が企業側の立場で参加致します。

2022年8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)