

(別紙1)

## 総括研究報告書

課題番号	2023B-15	
研究開発課題名	新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静療法の臨床試験	
分類*	<input type="checkbox"/> ① <input checked="" type="checkbox"/> ② <input type="checkbox"/> ③ <input type="checkbox"/> ④ <input type="checkbox"/> ⑤ <input type="checkbox"/> ⑥ <input type="checkbox"/> ⑦	
区分	<input type="checkbox"/> A <input checked="" type="checkbox"/> B <input type="checkbox"/> C <input type="checkbox"/> E <input type="checkbox"/> S	
主任研究者	所属	国立成育医療研究センター 周産期・母性診療センター
	役職	産科医長
	氏名	佐々木 愛子
実施期間	2023年 4月 1日 ～ 2023年 8月 22日	

※分類は下記①～⑦より選択

- ① 日本の成育分野の疾患の研究の基盤となる研究
- ② 診断、治療及び予防法の開発に関する研究
- ③ 発症機序や病態の解明等を行う研究
- ④ 診断や治療のための基準の開発等に関する研究
- ⑤ 患児・者のQOL向上に結びつく研究
- ⑥ 研究的視点や技術をもつ医療従事者を育てるための研究  
(プロトコル作成のフェージビリティ研究)
- ⑦ 政策提言に結びつく研究

### 成果の概要

平成30年より、日本医師会臨床研究・治験推進事業として開始し、AMED臨床研究・治験推進研究事業として継続してきた「新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静療法の臨床試験」を令和5年度4月1日からも成育開発研究費を獲得し継続し実施した。令和4年度に登録した症例(5例目)の出生児について、令和5年6月14日に生後3か月時点での評価を行い、生後3か月時点で児が生後IVIG療法・交換輸血・血液濾過透析・血漿交換・肝移植のいずれの治療も受けずに生存していることを確認した。また、令和5年8月22日に当該症例に関するモニタリングを行った。

昨年度までのAMED研究により令和5年3月31日までの治験の症例エントリー期間としていたが、本研究採択に伴い、令和6年9月30日まで症例エントリー期間の延長を行い、国立成育医療研究センターホームページのプレスリリースや、連携する厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業の「小児期発症の希少難治性肝胆膵疾患における医療水準並びに患者QOLの向上のための調査研究班」のホームページに掲載されている治験情報を修正し、改めて症例のリクルートを継続した。

令和5年8月22日時点で目標症例数8例中治験終了症例5例、主要評価項目の達成割合は100%である。AMED令和5年度「成育疾患克服等総合研究事業(二次公募)」に採択されたことに伴い、同日をもって本開発費による研究を完了した。