

## 「先天性腎性尿崩症に対するデスマプレシンの使用実態調査」に関する研究

### 1. 研究の対象

1980年1月から2022年8月の間に当院でデスマプレシン（以下、DDAVP）治療を受けたことのある腎性尿崩症患者

### 2. 研究目的・方法・研究期間

目的：先天性腎性尿崩症に対するDDAVPの使用実態とその安全性、有効性を調査する。

方法：研究対象者の以下の情報に関して診療録から後方視的に調査する。

#### 1) 患者背景

性別、生年月日、身長・体重・測定日（生下時、生後1ヶ月、生後4ヶ月、生後1年、以降1年毎、アンケート記入日から最も近い日）、合併症（水腎症、腎不全、膀胱尿管逆流症、神経因性膀胱、精神運動発達遅滞、巨大膀胱、その他）、既往症（水腎症、腎不全、膀胱尿管逆流症、神経因性膀胱、精神運動発達遅滞（IQ、DQ、ADHD/ASDの有無）、巨大膀胱、その他）、合併症・既往症に対する治療内容、現在の通院の有無、最終学歴（学校、クラス）

※ 稀少疾患であることから症例の重複を防ぐ目的で生年月日を調査する

#### 2) 診断時情報

診断月、診断時臨床情報（年齢、身長、体重、症状（多飲、多尿、体重減少、発熱、その他）、診断根拠（臨床症状、血液検査、水制限試験、バソプレシン負荷試験、遺伝学的検査）、治療前尿量、飲水量、血液検査結果（血清ナトリウム値、血漿AVP値）

水制限試験結果（最大尿浸透圧、最大体重減少率、最大血性ナトリウム値、最大血漿（血清）浸透圧、最大AVP値）バソプレシン負荷試験結果（バソプレシン投与後の尿浸透圧）  
遺伝学的検査結果

#### 3) 治療内容（DDAVP以外）

診断時から現在までに行った治療内容（塩分制限、ヒドロクロロチアジド、スピロラクトン、インドメタシン、塩化カリウム、その他）、現在も継続している治療内容とその詳細（塩分制限（g/day）、ヒドロクロロチアジド（mg/day）、スピロラクトン（mg/day）、インドメタシン（mg/day）、塩化カリウム（mg/day）、その他）

現在も継続している治療で有効であるもの（塩分制限、ヒドロクロロチアジド、スピロラクトン、インドメタシン、塩化カリウム、その他）

#### 4) DDAVP治療の詳細

DDAVP治療開始日、DDAVPの剤形、用法・用量、投与期間、DDAVP開始前後の尿量・飲水量、DDAVP開始前後の血清ナトリウム値、DDAVP開始1年前、半年前、3ヶ月前、開始時、開始3ヶ月後、半年後、1年後の身長、体重、副作用の有無とその詳細（血性ナトリウム低下、下痢、高血圧、その他）、副作用の対応方法

## 5) 施設名

### 3. 研究に用いる試料・情報の種類

上述

### 4. 外部への試料・情報の提供

データセンターへのデータの提供は、特定の関係者以外がアクセスできない状態で行います。対応表は、当センターの研究責任者が保管・管理します。

### 5. 研究組織

池側 研人 東京都立小児総合医療センター 内分泌・代謝科 / 臨床試験科  
水野 晴夫 藤田医科大学医学部 小児科学  
藤本 正伸 鳥取大学医学部 周産期・小児医学分野  
神崎 晋 旭川荘 療育・医療センター  
青山 幸平 名古屋市立大学大学院医学研究科 新生児・小児医学分野  
濱島 崇 あいち小児保健医療総合センター 内分泌代謝科  
石黒 寛之 しのはら小児クリニック  
樋口 真司 大阪市立総合医療センター 小児代謝・内分泌内科  
中山 尋文 大阪大学医学部附属病院 小児科  
長崎 啓祐 新潟大学医歯学総合病院 小児科  
田中 征治 久留米大学医学部 小児科  
永沼 節子 熊本労災病院 小児科  
小野 真 千葉市立海浜病院 小児科  
堀川 玲子 国立成育医療研究センター 内分泌・代謝科

### 6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。

ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、試料・情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としませんので、下記の連絡先までお申出ください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

照会先および研究への利用を拒否する場合の連絡先：

あいち小児保健医療総合センター

部署名 内分泌代謝科

担当者名 濱島 崇 (研究責任者)

〒474-8710 愛知県大府市森岡町七丁目 426 番地

電話 0562-43-0500 (代表) FAX 0562-43-0513

研究代表者:

東京都立小児総合医療センター 内分泌・代謝科 長谷川 行洋

-----以上