

## ノイキノン（一般名：ユビテカレノン）高用量治療に関する

### 説明・同意文書

#### はじめに

この説明・同意文書はノイキノン高用量内服の目的を正しく理解していただき、あなたの自由意志にもとづいて、同意いただけるかどうか判断していただくものです。この説明文章をお読みになり、担当医からの説明を聞かれた後、十分に考えてからこの試験に参加するかどうか決めて下さい。たとえ参加されなくても今後の治療に不利益になることはありません。また不明な点があれば質問をして下さい。なお、ご同意いただける場合は、ご署名のうえ、担当医師にお渡し下さい。

#### 臨床試験の背景、意義、治療法について

遺伝子検査で、ステロイドや免疫抑制薬治療に抵抗性のネフローゼ症候群の中に、ミトコンドリア呼吸鎖異常による腎障害があると分かるようになってきました。しかし、ミトコンドリア異常症に対する有効な治療法は確立されていません。ミトコンドリア病は遺伝病で遺伝形式は多様ですが、腎障害を来す形式の多くはコエンザイム Q10 (CoQ10) に関連することが報告されています。このことからミトコンドリア異常による腎症に対して外因性 CoQ10 であるノイキノン（一般名：ユビテカレノン）を投与し腎症が軽快した報告があります。しかし、現在ノイキノンの適応は標準的な治療を受けている軽度から中等度のうっ血性心不全の患者さんに対する用法のみであり、ミトコンドリア病に対しては適応がありません。また、ミトコンドリア異常による腎症に対して効果が期待される量は 5～50mg/kg/日と高用量であることが報告されており、保険適応外の診療となります。高用量内服でも重篤な副作用の報告はありませんが、これまでに報告されていない副作用が現れる可能性もあります。

以上、ミトコンドリア異常による腎症に対してノイキノン高用量治療がまだ確立されていないこと、高用量による副作用が不明確なことから当院ではノイキノン高用量内服に同意いただける方に対して臨床試験として実施することにしました。

#### この臨床試験による利益と不利益

ミトコンドリア異常による腎症、またはミトコンドリア異常による腎症が強く疑われる患者さんに対してノイキノン高用量治療を行うことで、尿蛋白の減少、ネフローゼ症候群の改善が期待されますが、ご自身の病気に対して有益かどうかは現時点では不明で、利益と不利益双方の可能性ががあります。また利益と不利益のどちらが上回るかも不明であり、上記のごとく臨床試験の方法をちらせていただきますが、もし治療が無効、あるいは有害と判断されれば、その他の治療に切り替えることとなります。

#### 起こりうる副作用について

ノイキノンの標準使用での副作用報告は胃部不快感や嘔気、下痢などの消化器症状と発疹でした。発現頻度は 1.46%と低いですが高用量内服による副作用は明らかではありません。また高用量治療では上記以外の症状が出現する可能性もありますので、何らかの異常を感じたら担当医にご相談下さい。

#### 経済的な負担について

ノイキノン高用量内服治療は保険適応外診療です。そのため保険診療で賄うことができず自己負担となります。その他の投薬で保険制度に従った医療行為に関しては今まで通り医療保険で賄われます。

#### 健康被害が生じた場合の対応と補償について

ノイキノン高用量治療によって健康被害が生じた場合の特別な補償制度はありませんが、病院で誠意をもって治療にあたります。利用は保健を使用した場合の一般診療に準じて行われます。

#### この臨床試験への参加と撤回について

この臨床試験に参加されるかどうかはご自身の自由意志によります。これを拒否されても不利益を受けることはありません。また同意後治療の開始の有無に関わらずいつでも撤回することができます。どちらの場合もその時の病状により最善の治療に当たります。

#### この臨床試験を中止する場合について

あなたがこの臨床試験の中止を希望した場合、病状の悪化や副作用のために担当医が中止した方がよいと判断した場合は試験を中止します。試験中止後もその後の対応について担当医が相談に応じます。