

# スピンラザ(ヌシネルセン)の

## 高用量投与の臨床試験

脊髄性筋萎縮症の患者様及び  
お子様をお持ちのご家族の方へ

当院において治験に参加頂ける  
以下の患者様を募集しています。

### 試験に参加いただける方

- 遺伝学的検査にて脊髄性筋萎縮症 (SMA) と診断された方
- [ I 型の場合 ]
  - 生後6ヵ月以内にSMAの症状を示した方
  - 生後7ヵ月以下の方
  - *SMN2*遺伝子コピー数が2の方
- [ II 型の場合 ]
  - 生後6ヵ月を超えてからSMAの症状を示した方
  - 2歳以上10歳未満の方
  - 人工呼吸器(鼻マスク等)の使用が1日のうち6時間未満の方  
など

### 募集期間

2021年3月～2022年5月

お問合せ先

東京女子医科大学  
遺伝子医療センターゲノム診療科  
SMARTコンソーシアム事務局  
E - mail : [office.ba@twmu.ac.jp](mailto:office.ba@twmu.ac.jp)



ご興味のある方は、お気軽にお問い合わせください。