



# 脊髄性筋萎縮症Ⅰ型のお子様をお持ちの ご家族の方へ

## 遺伝子治療の治験への参加募集

現在、脊髄性筋萎縮症Ⅰ型の小児患者さんを対象とした遺伝子治療による治験を実施しております。参加にご興味のあるご家族の方は、下記までお問い合わせください。  
なお、治験に参加していただけるいくつかの条件がありますが、主な条件は以下の通りです。

### <治験に参加のための主な条件>

- 遺伝学的検査で脊髄性筋萎縮症と診断されたⅠ型乳児（*SMN1* 遺伝子 0 コピー、*SMN2* 遺伝子 1 又は 2 コピー）
- 年齢：生後 6 ヶ月未満
- これまでに脊髄性筋萎縮症に関する治療経験のない方

本治験に関するお問い合わせ先：

SMART コンソーシアム事務局

Eメール：[office.ba@twmu.ac.jp](mailto:office.ba@twmu.ac.jp)

