

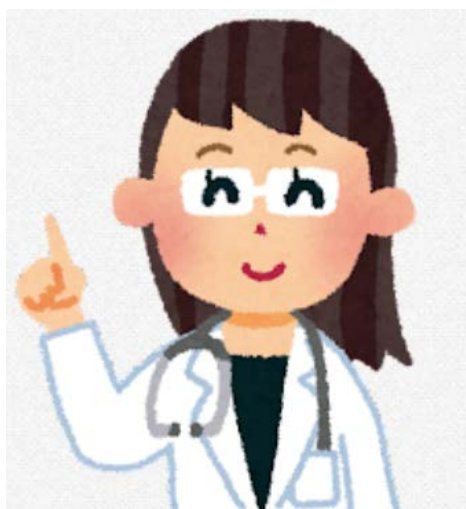
# 脊髄性筋萎縮症の患者様及び お子様をお持ちのご家族の方へ



当院では、脊髄性筋萎縮症の方を対象に  
遺伝子治療薬(髄腔内投与)の**治験\***を行っています。



## 治験とは



**治験\***とは、開発中のお薬を患者様に使用していただき、その有効性(効果など)および安全性(副作用など)を確認し、厚生労働省から医薬品としての承認を得るために行う臨床試験のことです。



## この治験に参加可能な方

- 遺伝子検査で脊髄性筋萎縮症と診断された方
- 生後 18 ヶ月未満の間に SMA の症状を示した方
- 年齢: 2歳から5歳 など

この他にも治験に参加していただくための基準があります。患者様によっては治験に参加いただけない場合もございますので、予めご了承ください。

ご興味のある方は、お気軽にお問合せ下さい。

本治験に関するお問い合わせ先:

東京女子医科大学  
ゲノム診療科  
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)