

翻訳活性開始活性化剤の小児開発における実施可能性の検討に伴う 小児白質消失症（VWM）患者の調査 （小児医薬品開発ネットワーク支援事業案件）

	調査概要
調査・研究の名称	翻訳活性開始活性化剤の小児開発における実施可能性の検討に伴う小児白質消失症（VWM）患者の調査
必要性	VWMの有病率は非常に低く、またその臨床症状は多岐にわたることから、VWMにおける新規治療薬の開発が課題となっている。極めて稀な神経変性疾患であるVWMに対する治療薬の小児治験の実施可能性可否を検討するため白質消失症及び関連疾患の実態調査を行う
抽出対象のデータ期間	2016年4月1日－2024年5月31日
解析対象者	白質消失病が観察され、その病名開始時点の年齢が18歳未満の患者
利活用情報	病名情報
結果の概要	<解析対象者> 白質消失症及び関連疾患の診断患者：172名 性別・年齢別等の患者数調査を行った。また、関連症状診断から白質消失病診断までの日数、白質消失病診断時の年齢等の調査を行った。
解析結果提出日	2024年7月16日