

ある程度の偏りを生じる可能性はあるので、今後追跡を経る間にデータの得られなかった患者についても調査を行えるよう検討していく必要がある。

次に、難病患者の QOL 評価ということで、指標として SF-36 と難病患者に共通の主観的 QOL 尺度を使用した。健康関連 QOL を測定する尺度は多数開発されており、その機能から一般的尺度と疾患特異的尺度に 2 分される^{7,9)}。一般的尺度とは、特定の疾患をターゲットにしない包括的な尺度であり、疾患特異的尺度とはある疾患の患者を評価するために開発された尺度である。

SF-36 は 1990 年代にアメリカにおいて開発された代表的な一般的尺度の一つであり、36 の項目からなり、これらの質問項目は身体機能、日常役割機能・身体、体の痛み、全体的な健康観、活力、社会生活機能、日常役割機能・精神および心の健康に関する質問項目の 8 つのサブスケールに分けられている。日本語版 SF-36 も開発され、その信頼性および妥当性が確認されている。

SF-36 を日本の難病患者に用いることの有用性として以下の点があげられる。

1. 地域社会で通常の生活を送っている国民の平均値（国民標準値）と定量的に比較することが可能である。
2. 8 つのサブスケールから構成されており、QOL を多角的に評価できる。

SF-36 をはじめとする一般的尺度は、国民標準値や他の疾患群との比較には適しているが、個々の疾患に特異的な問題点について評価することはできない。そのため、疾患特異的尺度が個々の疾患について開発されており、たとえば、難病患者に関する疾患特異的な尺度としては、難病患者の日常生活活動レベルを評価した研究¹⁰⁾や、疾患単位で QOL を測定し社会的要因や心理的要因との関連性を分析した研究^{11,12)}はみられる。一方、難病患者については、疾患特異的尺度を開発した欧米の先行研究^{13,14)}はあるものの、日本人を対象に開発された、信頼性および妥当性が確立した疾患特異的尺度は少ないというのが現状である。その中で、開発された「難病患者に共通の主観的 QOL 尺度」²⁾は、主観的 QOL の概念を構成する下位次元として、受容及び志気を想定し 9 項目から構成される尺度であり、信頼性及び妥当性の検討もも行われており、構成概念妥当性と信頼性を有する尺度である。

評価結果として SF-36 より、日常役割機能・身体（身体問題による仕事や普段の活動の制限）、社会生活機能（家族・友人・他人とのつきあい）ともに、国民標準値との比較で神経・筋疾患といわれる重症筋無力症、筋萎縮性側索硬化症、脊髄小脳変性症、パーキンソン病において低い。また、腎移植患者における研究結果⁹⁾と比較して、日常役割機能・身体、社会生活機能どちらにおいても重症筋無力症、筋萎縮性側索硬化症、脊髄小脳変性症、パーキンソン病が低い結果であった。これらの疾患において日常生活動作において寝たきり患者が多い結果より、症状としての ADL 低下や身体問題により仕事や普段の活動の制限や、家族・友人・他人とのつきあいが制限されたと考えられる。

さらに難病患者に共通の主観的 QOL 尺度より、上記神経・筋疾患において志気及び受容が他の疾患と比較して有意に低く、これら疾患は運動障害を伴う特に歩行障害を伴う疾患であり、ADL 低下をきたし病気の受容及び志気に影響したと考えられる。さらに、これら疾患患者の公的サービス利用割合が高いにもかかわらず、現在受けているサービスへの満足度は、ほとんどの疾患で約 4 割で、寝たきり患者においても同様で変化がみられないことから、保健福祉サービスの在り方を検討する必要があると考えられる。特定疾患の療養過程や罹患する臓器・組織、症状は多岐にわたり、同じ疾患群にまとめられる疾患同士でも、大きく異なることがあり、同一疾患の患者・家族でも、おかれている社会・家族状況が多様であるため¹⁵⁾、きめ細やかなサービスが必要となってきた。このような観点から、難病患者に関係する機関間の連絡・調整、カンファレンスなどによる支援チームの運営が望まれており¹⁶⁾、保健所と市町村とが連携を密にして、効果的な保健福祉サービスの提供を推進することが必要である。

2. 追跡結果について

1999 年度の全国保健所のうち、35 保健所協力可能のうち、1999 年度 30 保健所よりデータ入手で回収率は 57.7 % (=2,059 人:調査実施数 / 3,571 人:調査予定者数)であった。2,059 人のうち、追跡調査において調査未回答者 616 人 (29.9 %)、治療または軽快等による中止者 1 人、転出者 6 人、死亡者 51 人であった。全体としては約 7 割の追跡率となっている。

疫学・福祉情報調査票、QOL（難病患者に共通

の QOL 尺度、SF-36) 調査に同意しなかったあるいは回答拒否者 496 人 (24.1%) を除いた対象者 1,563 人においては、調査未回答者 351 人 (22.5%)、治癒または軽快等による中止者 1 人、転出者 4 人、死亡者 31 人であった。

疾患別・日常生活動作別推移では、各疾患ごとに約 6 割が現状維持で筋萎縮性側索硬化症にのみ死亡割合が約 3 割と高い傾向にあった。

QOL 変化の関連要因として保健福祉サービスの利用変化と、日常生活動作の変化 (ADL 動作の変化) があった。特に、各疾患共通に保健福祉サービスの利用変化と食事自立の変化が関与しており、これらの変化が病気の受容や生きがいなど心の健康面の変化につながっていると考えられた。しかし、追跡年数が少ないために、有意な関連性が認められなかった点と保健福祉サービスの細かな内容についても有意な関連性は認められなかった点もみられ、追跡年数を増やすことにより、より明快な関連性が得られるものと考えられる。

また、社会生活機能の変化に影響するものとしても ADL の変化が影響しており、特にパーキンソン病のみであったが、食事・着替えにおける自立変化が大きく関与しており、これらの変化が家族・友人などのつきあいに影響していると考えられた。これからの難病患者の在宅療養を考える上で、重要な因子として上記観点があげられると考えられた。

文 献

- 1) 永井正規, 橋本修二, 能勢隆之, 他. 厚生省特定疾患 (難病) 情報システムの考案. 厚生省の指標 1998;45(10):3-7.
- 2) 川南勝彦, 古谷野真, 箕輪真澄, 他. 難病患者に共通の主観的 QOL 尺度の開発. 日本公衆衛生雑誌 2000; 47(12): 990-1003.
- 3) John E. Ware, Kristin K. Snow, Mark Kosinski, Barbara Gandek. Scoring the SF-36. SF-36 Health Survey Manual and Interpretation Guide. Quality Metric Inc 1997;6:1-6:22.
- 4) 川南勝彦, 箕輪真澄, 永井正規, 他. 地域ベースにおける難病患者コーホート研究. 厚生省特定疾患調査研究事業特定疾患に関する疫学研究班平成 10 年度研究業績集 1999:40-48.
- 5) 尾藤誠司, 福原俊一. Short Form 36 Health Survey (SF-36) 面接用バージョンの妥当性及び施設入所老人と一般在宅老人との比較を中心とした高齢者 Health-Related Quality of Life 測定を試み. 日本老年医学会雑誌 1998;35 (6):458-463.
- 6) Shunichi Fukuhara, John E. Ware, Mark Kosinski, et al. Psychometric and Clinical Tests of Validity of the Japanese SF-36 Health Survey. J Clin Epidemiology 1998;51(11):1045-1053.
- 7) 林洋子, 福原俊一. 腎移植患者の QOL. 腎と透析 1999;46(3):375-378.
- 8) Hayashi Y, Fukuhara S, Green J, et al. Health-related quality of life among renal-transplant recipients in Japan. Transplantation 1999;68(9):1331-5.
- 9) 福原俊一. QOL 研究の意義と問題点. 腎と透析 1999;46(3):329-334.
- 10) 長野聖, 西岡千里, 中西範幸, 多田羅浩三. 在宅神経筋難病患者の日常生活活動評価の検討. 総合リハビリテーション 1999;27(4):359-366.
- 11) 山田孝子, 加知輝彦, 米山榮, 他. 高齢パーキンソン病患者における生活の質. 日常生活と心理的要因について. 総合臨床 1997;46(11):2824-2826.
- 12) 山田孝子, 加知輝彦, 米山榮, 他. 高齢パーキンソン病患者の生活の質 (QOL) と社会的要因. Geriatric Medicine 1997;35(10):1413-1415.
- 13) Rudick RA, Miller D, Clough JD, et al. Quality of life in multiple sclerosis. Comparison with inflammatory bowel disease and rheumatoid arthritis. Arch Neurol 1992;49(12):1237-42.
- 14) Hashimoto H, Iwao Y, Hibi T, et al. A model of quality of life in the patients with Crohn's disease. Nippon Shokakibyō Gakkai Zasshi 1999;96(11):1258-65.
- 15) 澤田甚一. 介護保険時代の地域難病ケア. 保健所難病事業をどのように進めていくか. 生活教育 2000;44(7):7-20.

The cohort study of intractable diseases patients for public health centers

Minowa Masumi (Epidemiology, National Institute of Public Health)

Purpose

In a series of our studies, the information, such as clinical, epidemiological, health and welfare information, on individual patients suffering from intractable diseases, as well as the information on the actual state of the recipients of welfare services have been collected and made into a database, and a cohort analysis of them has been carried out. In this year, a follow-up survey was carried out. The obtained results are reported here.

Subjects

The subjects were new and continuing recipients of medical care for specified diseases within the catchment area of 35 public health centers throughout Japan (patients who were recognized as eligible recipients as of April 1, 1999 and those who became eligible subsequently). Patients with subacute myelo-optic neuropathy (SMON), fulminant hepatitis, severe acute pancreatitis, and Creutzfeldt-Jakob disease were excluded.

Methods

1. Follow-up survey items: 1) Basic Information - Application Form, 2) Clinical Information - Personal Clinical Survey Sheet, 3) Epidemiology and Welfare Information Survey Sheet: Activities of daily living (ADL), status of utilization of public health, medical care, and welfare services, etc.), 4) QOL (A scale of the subjective QOL common to patients with intractable diseases (a subjective QOL scale), SF-36), 5) Vital and moving-out information.

2. A baseline data was analyzed by analysis of variance and calculation of the mean values and 95% confidence intervals of subjective QOL scale scores adjusted by an analysis model (input according to each of the diseases), including control variables, such as ADL, in addition to sex and age cohort, and the results were compared according to disease. Comparisons were then conducted in regard to the scores on the individual subscales of the SF-36 of patients with each of the diseases and the national-norm scores for Japan. The differences in scores standardized with the national-norm scores for Japan were used as the scores for each of the subscales.

3. A follow-up data was analyzed by analysis of odds ratios (95% confidence intervals) of subjective QOL scale changing scores adjusted by a multiple logistic regression model (input according to each of the diseases), including control variables, such as ADL, sex and age, and the results were compared according to disease.

4. The data were analyzed by analysis of variance and calculation of mean values (95% confidence intervals) of SF-36 subscale changing scores adjusted by an analysis model (input according to each of the diseases), including control variables, such as ADL, sex and age, and the results were compared according to disease.

Results and conclusions

1. Comparison of means on subjective QOL scale scores with adjustments for sex, age cohort, and ADL according to disease showed that they were significantly lower for amyotrophic lateral sclerosis (7.6, 95%CI: 6.3-8.8), spinocerebellar degeneration (8.0, 95%CI: 7.2-8.8), and Parkinson's disease (7.8, 95%CI: 7.1-8.5), than for the other diseases.

2. Comparisons according to disease with the national-norm scores for Japan on the SF-36 subscales

Results on all of subscales of the SF-36 for so-called cerebro-neuro-muscular intractable diseases were significantly lower than the national-norm scores for Japan. The lowest of the subscales was physical functioning.

3. We reported that the whole follow-up rate was about 70%. Odds ratios on subjective QOL scale changing scores adjusting sex, age cohort, and ADL according to disease were associated with changing utility of public services and changing ADL. Especially, they were associated with changing utility of public services and change of eating actions in common between all analyzing diseases patients. Means on SF-36 subscale (social functioning) changing scores adjusting sex, age cohort, and ADL according to disease were only associated with

changing ADL. Especially, they were associated with a change of eating actions and changing clothes in Parkinson's disease patients.

Key words : intractable diseases, a cohort study, QOL

表1 本研究対象者と全国データとの比較(%)

	本研究対象者			1997年度の全国特定疾患医療受給者調査		
	男性	女性	合計	男性	女性	合計
ベーチェット病	16 (43.2)	21 (56.8)	37 (1.8)	6904 (42.4)	9383 (57.6)	16287 (4.1)
多発性硬化症	22 (31.9)	47 (68.1)	69 (3.4)	2198 (31.6)	4761 (68.4)	6959 (1.8)
重症筋無力症	27 (29.7)	64 (70.3)	91 (4.4)	3491 (31.1)	7727 (68.9)	11218 (2.8)
全身性エリテマトーデス	9 (13.0)	60 (87.0)	69 (3.4)	4271 (9.5)	40838 (90.5)	45109 (11.4)
再生不良性貧血	3 (30.0)	7 (70.0)	10 (0.5)	3905 (41.1)	5603 (58.9)	9508 (2.4)
サルコイドーシス	3 (42.9)	4 (57.1)	7 (0.3)	5087 (31.7)	10952 (68.3)	16039 (4.1)
筋萎縮性側索硬化症	55 (61.1)	35 (38.9)	90 (4.4)	2958 (61.8)	1826 (38.2)	4784 (1.2)
強皮症、皮膚(多発性)筋炎	17 (19.8)	69 (80.2)	86 (4.2)	4592 (18.7)	19966 (81.3)	24558 (6.2)
特発性血小板減少性紫斑病	6 (40.0)	9 (60.0)	15 (0.7)	8732 (30.3)	20072 (69.7)	28804 (7.3)
結節性動脈周囲炎	3 (60.0)	2 (40.0)	5 (0.2)	1106 (43.9)	1416 (56.1)	2522 (0.6)
潰瘍性大腸炎	34 (47.9)	37 (52.1)	71 (3.4)	26365 (50.4)	25896 (49.6)	52261 (13.3)
大動脈炎症候群	2 (10.0)	18 (90.0)	20 (1.0)	389 (7.8)	4601 (92.2)	4990 (1.3)
ビュルガー病	20 (100)	0	20 (1.0)	9174 (88.5)	1189 (11.5)	10363 (2.6)
天疱瘡	1 (33.3)	2 (66.7)	3 (0.1)	1125 (39.6)	1717 (60.4)	2842 (0.7)
脊髄小脳変性症	197 (52.8)	176 (47.2)	373 (18.1)	8279 (51.3)	7866 (48.7)	16145 (4.1)
クローン病	10 (55.6)	8 (44.4)	18 (0.9)	10675 (68.5)	4901 (31.5)	15576 (4.0)
悪性関節リウマチ	1 (12.5)	7 (87.5)	8 (0.4)	1277 (24.0)	4049 (76.0)	5326 (1.4)
パーキンソン病	358 (41.7)	501 (58.3)	859 (41.7)	19145 (40.5)	28086 (59.5)	47231 (12.0)
アミロイドーシス	0	1 (100)	1 (0.0)	336 (43.7)	433 (56.3)	769 (0.2)
後縦靭帯骨化症	42 (72.4)	16 (27.6)	58 (2.8)	10817 (65.7)	5648 (34.3)	16465 (4.2)
ハンチントン舞蹈病	3 (37.5)	5 (62.5)	8 (0.4)	243 (47.9)	264 (52.1)	507 (0.1)
ウイリス動脈輪閉塞症	21 (46.7)	24 (53.3)	45 (2.2)	2440 (36.3)	4283 (63.7)	6723 (1.7)
ウェゲナー肉芽腫	0	2 (100)	2 (0.1)	327 (45.4)	393 (54.6)	720 (0.2)
特発性拡張型心筋症	11 (100)	0	11 (0.5)	6809 (72.1)	2638 (27.9)	9447 (2.4)
シャイ-ドレーガー症候群	5 (83.3)	1 (16.7)	6 (0.3)	431 (73.8)	153 (26.2)	584 (0.1)
表皮水疱症	0	1 (100)	1 (0.0)	150 (47.9)	163 (52.1)	313 (0.1)
膿疱性乾癬	1 (100)	0	1 (0.0)	491 (49.3)	504 (50.7)	995 (0.3)
広範性脊柱管狭窄症	2 (50.0)	2 (50.0)	4 (0.2)	841 (71.5)	335 (28.5)	1176 (0.3)
原発性胆汁性肝硬変	0	25 (100)	25 (1.2)	912 (11.0)	7408 (89.0)	8320 (2.1)
特発性大腿骨頭壊死症	15 (62.5)	9 (37.5)	24 (1.2)	4364 (66.6)	2191 (33.4)	6555 (1.7)
混合型結合組織病	1 (20.0)	4 (80.0)	5 (0.2)	318 (7.9)	3689 (92.1)	4007 (1.0)
特発性間質性肺炎	0	3 (100)	3 (0.1)	1511 (64.0)	849 (36.0)	2360 (0.6)
網膜色素変性症	11 (45.8)	13 (54.2)	24 (1.2)	6369 (43.5)	8267 (56.5)	14636 (3.7)
合計	891 (43.3)	1168 (56.7)	2059 (100)	156032 (39.6)	238067 (60.4)	394099 (100)

表2 疾患別、日常生活動作別の公的サービスの利用状況と医療機関への受診状況 (%)

		調査数 (%)	公的サービスの利用状況		医療機関への受診状況		
			受けていない	受けた	主に通院	主に往診	主に入院
重症筋無力症	作業ができる	45 (66.2)	36 (80.0)	4 (8.9)	30 (66.7)		1 (2.2)
	歩行ができる	19 (27.9)	11 (57.9)	6 (31.6)	14 (73.7)		
	座ることができる	1 (1.5)		1 (100)			
	寝たきり	1 (1.5)		1 (100)		1 (100)	
全身性エリテマトーデス	合計	68 (100)	47 (69.1)	12 (17.6)	45 (66.2)	1 (1.5)	1 (1.5)
	作業ができる	41 (75.9)	32 (78.0)	6 (14.6)	37 (90.2)	1 (2.4)	1 (2.4)
	歩行ができる	11 (20.4)	8 (72.7)	3 (27.3)	10 (90.9)		
	座ることができる	2 (3.7)	2 (100)		2 (100)		
筋萎縮性側索硬化症	合計	54 (100)	42 (77.8)	9 (16.7)	49 (90.7)	1 (1.9)	1 (1.9)
	作業ができる	3 (4.3)	2 (66.7)	1 (33.3)	3 (100)		
	歩行ができる	14 (20.3)	8 (57.1)	6 (42.9)	11 (78.6)		1 (7.1)
	座ることができる	17 (24.6)	6 (35.3)	10 (58.8)	11 (64.7)	3 (17.6)	2 (11.8)
潰瘍性大腸炎	寝たきり	29 (42.0)	8 (27.6)	19 (65.5)		13 (44.8)	13 (44.8)
	合計	69 (100)	27 (39.1)	37 (53.6)	27 (39.1)	17 (24.6)	17 (24.6)
	作業ができる	52 (86.7)	45 (86.5)	2 (3.8)	42 (80.8)		1 (1.9)
	歩行ができる	5 (8.3)	3 (60.0)		4 (80.0)		
再掲：重症度別	座ることができる	2 (3.3)	1 (50.0)	1 (50.0)			
	合計	60 (100)	49 (81.7)	3 (5.0)	46 (76.7)		1 (1.7)
	軽症	16 (39.0)	15 (93.8)		13 (81.3)		
	中等度	21 (51.2)	16 (76.2)	1 (4.8)	19 (90.5)		
脊髄小脳変性症	重症	4 (9.8)	3 (75.0)	1 (25.0)	2 (50.0)		1 (25.0)
	合計	41 (100)	34 (82.9)	2 (4.9)	34 (82.9)		1 (2.4)
	作業ができる	60 (19.8)	34 (56.7)	19 (31.7)	48 (80.0)	1 (1.7)	2 (3.3)
	歩行ができる	90 (29.7)	54 (60.0)	29 (32.2)	71 (78.9)	1 (1.1)	5 (5.6)
パーキンソン病	座ることができる	105 (34.7)	41 (39.0)	54 (51.4)	72 (68.6)	14 (13.3)	7 (6.7)
	寝たきり	35 (11.6)	18 (51.4)	12 (34.3)	1 (2.9)	6 (17.1)	25 (71.4)
	合計	303 (100)	151 (49.8)	119 (39.3)	198 (65.3)	24 (7.9)	39 (12.9)
	作業ができる	121 (18.4)	63 (52.1)	45 (37.2)	100 (82.6)	1 (0.8)	
パーキンソン病	歩行ができる	266 (40.5)	110 (41.4)	122 (45.9)	199 (74.8)	11 (4.1)	14 (5.3)
	座ることができる	119 (18.1)	38 (31.9)	67 (56.3)	55 (46.2)	11 (9.2)	19 (16.0)
	寝たきり	78 (11.9)	20 (25.6)	46 (59.0)	18 (23.1)	17 (21.8)	30 (38.5)
	合計	657 (100)	255 (38.8)	315 (47.9)	406 (61.8)	42 (6.4)	68 (10.4)

表3 疾患別、日常生活動作別の現在受けている公的サービスへの満足度：公的サービスを受けた患者（％）
現在受けている公的サービスへの満足度

		対象数	やや満足～満足	ふつう	やや不満～不満
重症筋無力症	作業ができる	4	1 (25.0)	2 (50.0)	1 (25.0)
	歩行ができる	6	2 (33.3)	3 (50.0)	
	座ることができる	1		1 (100)	
	寝たきり	1		1 (100)	
	合計	12	3 (25.0)	7 (58.3)	1 (8.3)
全身性エリテマトーデス	作業ができる	6	2 (33.3)	1 (16.7)	1 (16.7)
	歩行ができる	3	1 (33.3)		
	座ることができる	0	0		
	合計	9	3 (33.3)	1 (11.1)	1 (11.1)
筋萎縮性側索硬化症	作業ができる	1	1 (100)		
	歩行ができる	6	2 (33.3)	2 (33.3)	1 (16.7)
	座ることができる	10	3 (30.0)	3 (30.0)	
	寝たきり	19	9 (47.4)	6 (31.6)	2 (10.5)
	合計	37	16 (43.2)	11 (29.7)	3 (8.1)
潰瘍性大腸炎	作業ができる	2	1 (50.0)	1 (50.0)	
	歩行ができる	0			
	座ることができる	1	1 (100)		
	合計	3	2 (66.7)	1 (33.3)	
再掲：重症度別	軽症	0			
	中等度	1	1 (100)		
	重症	1		1 (100)	
	合計	2	1 (50.0)	1 (50.0)	
脊髄小脳変性症	作業ができる	19	5 (26.3)	11 (57.9)	2 (10.5)
	歩行ができる	29	8 (27.6)	13 (44.8)	2 (6.9)
	座ることができる	54	17 (31.5)	20 (37.0)	7 (13.0)
	寝たきり	12	4 (33.3)	4 (33.3)	3 (25.0)
	合計	119	35 (29.4)	50 (42.0)	14 (11.8)
パーキンソン病	作業ができる	45	13 (28.9)	22 (48.9)	4 (8.9)
	歩行ができる	122	40 (32.8)	55 (45.1)	14 (11.5)
	座ることができる	67	25 (37.3)	26 (38.8)	12 (17.9)
	寝たきり	46	13 (28.3)	26 (56.5)	3 (6.5)
	合計	315	98 (31.1)	151 (47.9)	38 (12.1)

表4 疾患別の各尺度別平均値（調整前・後）

	難病患者に共通の主観的QOL尺度 (min=0, max=10)				SF-36サブスケール (min=0, max=100)			
	調整前		調整後(95%信頼区間)		日常役割機能・身体		社会生活機能	
	調整前	調整後(95%信頼区間)	調整前	調整後(95%信頼区間)	調整前	調整後(95%信頼区間)	調整前	調整後(95%信頼区間)
重症筋無力症	(n= 66)	10.5	9.6 (8.3 - 11.0)	(n= 68)	56.3	50.7 (38.8 - 62.7)	70.5	57.4 (48.6 - 66.3)
全身性エリテマトーデス	(n= 51)	10.7	10.5 (9.0 - 12.1)	(n= 54)	65.6	63.1 (49.8 - 76.4)	78.7	67.8 (57.9 - 77.7)
筋萎縮性側索硬化症	(n= 64)	5.9	7.2 (5.8 - 8.5)	(n= 64)	29.5	48.4 (36.4 - 60.5)	43.3	50.5 (41.5 - 59.4)
潰瘍性大腸炎	(n= 53)	13.0	11.8 (10.2 - 13.3)	(n= 53)	75.4	64.4 (51.2 - 77.7)	81.9	65.9 (56.1 - 75.7)
脊髄小脳変性症	(n=286)	7.0	7.9 (7.0 - 8.9)	(n=295)	32.2	46.8 (38.3 - 55.4)	56.0	59.3 (52.9 - 65.6)
パーキンソン病	(n=612)	7.1	8.0 (7.1 - 9.0)	(n=624)	27.8	45.6 (37.3 - 53.8)	54.2	56.5 (50.3 - 62.6)

調整後：共分散分析により、性・年齢階級・日常生活動作（または重症度）・医療機関への受診状況・公的サービスの利用状況を調整した値

表5 SF-36尺度各サブスケールにおける国民標準値との疾患別比較

		SF-36サブスケール (min=0,max=100)	
		日常役割機能・身体	社会生活機能
重症筋無力症	(n= 68)	-0.57*	-0.64*
全身性エリテマトーデス	(n= 54)	-0.29	-0.26
筋萎縮性側索硬化症	(n= 64)	-1.06*	-1.67*
潰瘍性大腸炎	(n= 59)	-0.06	-0.12
脊髄小脳変性症	(n=295)	-1.03*	-1.16*
パーキンソン病	(n=624)	-0.94*	-1.05*

各スコア=国民標準値の標準偏差で標準化した差得点

*:Wilcoxon の符号付き順位和検定でp<0.05

表6 追跡結果

申請書回答者	疫学・福祉情報 調査票 QOL調 査票への回答者	治癒、軽快等 による中止者	転出者	死亡者	未回答者	合計
<1999年度調査患者>						
1385 (67.3%)		1 (0.05%)	6 (0.3%)	51 (2.5%)	616 (29.9%)	2059
<1999年度調査患者のうち、疫学・福祉情報調査票、QOL調査票への回答者>						
1176 (75.2%)	1084 (69.4%)	1 (0.06%)	4 (0.3%)	31 (2.0%)	351 (22.5%)	1563

表7 疾患別追跡結果

疾患名	生存者	治癒、軽 快等による 中止者	転出者	死亡者	調査未回答者	合計
パーキンソン病	473 (72.0)		3 (0.5)	15 (2.3)	166 (25.3)	657 (100)
脊髄小脳変性症	258 (85.1)			7 (2.3)	38 (12.5)	303 (100)
筋萎縮性側索硬化症	45 (65.2)			8 (11.6)	16 (23.2)	69 (100)
重症筋無力症	60 (88.2)	1 (1.5)			7 (10.3)	68 (100)
潰瘍性大腸炎	38 (63.3)				22 (36.7)	60 (100)
全身性エリテマトーデス	44 (81.5)				10 (18.5)	54 (100)
多発性硬化症	33 (71.7)		1 (2.2)		12 (26.1)	46 (100)
後縦靭帯骨化症	29 (72.5)				11 (27.5)	40 (100)
強皮症	29 (80.6)				7 (19.4)	36 (100)
ベーチェット病	19 (73.1)				7 (26.9)	26 (100)
皮膚筋炎、多発性筋炎	15 (57.7)				11 (42.3)	26 (100)
網膜色素変性症	13 (61.9)				8 (38.1)	21 (100)
ウイルス動脈輪閉塞症	12 (60.0)			1 (5.0)	7 (35.0)	20 (100)
原発性胆汁性肝硬変	15 (83.3)				3 (16.7)	18 (100)
クローン病	10 (62.5)				6 (37.5)	16 (100)
ビュルガー病	12 (85.7)				2 (14.3)	14 (100)
大動脈炎症候群	13 (100)					13 (100)
特発性大腿骨頭壊死症	6 (46.2)				7 (53.8)	13 (100)
特発性血小板減少性紫斑病	10 (100)					10 (100)
特発性(うっ血性)心筋症	5 (55.6)				4 (44.4)	9 (100)
再生不良性貧血	8 (100)					8 (100)
シャイ・ドレーガー症候群	4 (66.7)				2 (33.3)	6 (100)
サルコイドーシス	4 (80.0)				1 (20.0)	5 (100)
ハンチントン舞踏病	4 (80.0)				1 (20.0)	5 (100)
結節性動脈周囲炎	3 (75.0)				1 (25.0)	4 (100)
悪性関節リウマチ	4 (100)					4 (100)
天疱瘡	3 (100)					3 (100)
混合性結合組織病	2 (66.7)				1 (33.3)	3 (100)
特発性間質性肺炎	2 (66.7)				1 (33.3)	3 (100)
広範性脊柱管狭窄症	2 (100)					2 (100)
表皮水疱症	1 (100)					1 (100)
合計	1176 (75.2)	1 (0.1)	4 (0.3)	31 (2.0)	351 (22.5)	1563 (100)

表8 疾患別のADL推移

	ADL(ベースライン)	ADL(追跡後)				合計
		歩行ができる	歩行ができない、寝たきり	死亡	未回答	
パーキンソン病	歩行ができる	217 (60.3)	42 (11.7)	1 (0.3)	100 (27.8)	360 (100)
	歩行ができない、寝たきり	38 (20.5)	64 (34.6)	14 (7.6)	69 (37.3)	185 (100)
脊髄小脳変性症	歩行ができる	89 (60.5)	31 (21.1)		27 (18.4)	147 (100)
	歩行ができない、寝たきり	16 (11.9)	80 (59.3)	7 (5.2)	32 (23.7)	135 (100)
筋萎縮性側索硬化症	歩行ができる	7 (41.2)	1 (5.9)	5 (29.4)	4 (23.5)	17 (100)
	歩行ができない、寝たきり	3 (7.0)	25 (58.1)	2 (4.7)	13 (30.2)	43 (100)

表9-1 QOL得点の変化と関連要因変化との関係

パーキンソン病		難病患者に共通の主観的QOL尺度得点の差(追跡後-ベースライン時)			
	ベースライン時点	追跡後	解析数	変化+:人数(%)	修正済みオッズ比:95%信頼区間
保健福祉サービスの利用変化	受けていない	受けていない	100	60 (60.0)	1.00
		受けている	39	19 (48.7)	0.75 (0.29 ~ 1.97)
	受けている	受けていない	50	31 (62.0)	1.70 (0.67 ~ 4.29)
		受けている	130	78 (60.0)	1.91 (0.86 ~ 4.23)
起きあがり動作	すべて自立	すべて自立	135	78 (57.8)	1.00
		介助が必要	48	22 (45.8)	0.31 (0.13 ~ 0.75)
	介助が必要	すべて自立	37	29 (78.4)	1.33 (0.39 ~ 4.55)
		介助が必要	172	99 (57.6)	0.38 (0.19 ~ 0.76)
室内移動	すべて自立	すべて自立	172	103 (59.9)	1.00
		介助が必要	61	30 (49.2)	0.40 (0.18 ~ 0.88)
	介助が必要	すべて自立	37	28 (75.7)	0.79 (0.28 ~ 2.24)
		介助が必要	120	65 (54.2)	0.20 (0.09 ~ 0.44)
歩行	すべて自立	すべて自立	139	85 (61.2)	1.00
		介助が必要	65	31 (47.7)	0.42 (0.19 ~ 0.94)
	介助が必要	すべて自立	35	24 (68.6)	0.72 (0.26 ~ 1.97)
		介助が必要	148	85 (57.4)	0.42 (0.20 ~ 0.88)
食事	すべて自立	すべて自立	199	120 (60.3)	1.00
		介助が必要	59	30 (50.8)	0.49 (0.23 ~ 1.05)
	介助が必要	すべて自立	37	25 (67.6)	1.02 (0.36 ~ 2.89)
		介助が必要	96	52 (54.2)	0.23 (0.10 ~ 0.52)
排泄	すべて自立	すべて自立	194	117 (60.3)	1.00
		介助が必要	56	28 (50.0)	0.52 (0.24 ~ 1.15)
	介助が必要	すべて自立	32	24 (75.0)	0.64 (0.23 ~ 1.79)
		介助が必要	102	53 (52.0)	0.25 (0.12 ~ 0.55)
入浴	すべて自立	すべて自立	144	89 (61.8)	1.00
		介助が必要	50	23 (46.0)	0.36 (0.15 ~ 0.85)
	介助が必要	すべて自立	26	18 (69.2)	0.61 (0.19 ~ 2.00)
		介助が必要	170	96 (56.5)	0.35 (0.17 ~ 0.71)
着替え	すべて自立	すべて自立	126	77 (61.1)	1.00
		介助が必要	54	21 (38.9)	0.31 (0.13 ~ 0.71)
	介助が必要	すべて自立	28	19 (67.9)	0.57 (0.18 ~ 1.76)
		介助が必要	183	111 (60.7)	0.56 (0.28 ~ 1.11)

調整済みオッズ比:性・年齢、医療機関へ受診状況、保健福祉サービスの变化、ADL変化、初期QOL得点で調整
 変化+:難病患者に共通の主観的QOL尺度得点の差(追跡後-ベースライン時) ≥ 0
 保健福祉サービス:ホームヘルパー、看護婦、保健婦による医療以外のサービス

表9-2 QOL得点の変化と関連要因変化との関係

脊髄小脳変性症		難病患者に共通の主観的QOL尺度得点の差(追跡後-ベースライン時)			
	ベースライン時点	追跡後	解析数	変化+:人数(%)	修正済みオッズ比:95%信頼区間
保健福祉サービスの利用変化	受けていない	受けていない	72	54 (75.0)	1.00
		受けている	30	15 (50.0)	0.63 (0.16 ~ 2.52)
	受けている	受けていない	19	12 (63.2)	0.19 (0.04 ~ 0.90)
		受けている	58	33 (56.9)	0.60 (0.18 ~ 1.97)
食事	すべて自立	すべて自立	125	84 (67.2)	1.00
		介助が必要	29	13 (44.8)	0.29 (0.09 ~ 0.90)
	介助が必要	すべて自立	7	4 (57.1)	0.21 (0.03 ~ 1.66)
		介助が必要	53	37 (69.8)	0.62 (0.20 ~ 1.92)

調整済みオッズ比:性・年齢、医療機関へ受診状況、保健福祉サービスの变化、ADL変化、初期QOL得点で調整

変化+:難病患者に共通の主観的QOL尺度得点の差(追跡後-ベースライン時)≥0

保健福祉サービス:ホームヘルパー、看護婦、保健婦による医療以外のサービス

表10 ADLの変化とQOL得点の変化との関係

パーキンソン病		SF-36(社会生活機能)得点の差(追跡後-ベースライン時)			
ベースライン時点	追跡後	すべて自立		介助が必要	
		平均値(95%信頼区間)	有効数	平均値(95%信頼区間)	有効数
起き上がり動作					
起き上がり動作	すべて自立	-3.7 (-15.3 ~ 7.8)	134	-16.1 (-29.6 ~ -2.5)	52
	介助が必要	12.0 (-3.7 ~ 27.7)	38	-5.5 (-16.4 ~ 5.4)	170
室内移動					
室内移動	すべて自立	-6.2 (-18.0 ~ 5.6)	169	-16.3 (-29.8 ~ -2.8)	64
	介助が必要	2.2 (-13.2 ~ 17.5)	38	-11.0 (-22.8 ~ 0.8)	120
歩行					
歩行	すべて自立	-9.8 (-21.8 ~ 2.3)	140	-14.8 (-28.3 ~ -1.3)	68
	介助が必要	-3.5 (-19.0 ~ 11.9)	37	-12.5 (-24.4 ~ -0.6)	144
食事					
食事	すべて自立	1.5 (-9.6 ~ 12.7)	198	-18.3 (-31.2 ~ -5.4)	61
	介助が必要	18.4 (3.5 ~ 33.3)	38	-2.9 (-14.3 ~ 8.5)	97
排泄					
排泄	すべて自立	-0.3 (-12.1 ~ 11.5)	194	-11.6 (-25.0 ~ 1.9)	59
	介助が必要	14.9 (-1.3 ~ 31.0)	32	-0.5 (-12.4 ~ 11.5)	102
入浴					
入浴	すべて自立	-0.9 (-12.3 ~ 10.5)	144	-12.1 (-25.5 ~ 1.3)	52
	介助が必要	16.6 (-0.1 ~ 33.3)	26	-2.9 (-13.6 ~ 7.7)	170
着替え					
着替え	すべて自立	-1.7 (-13.2 ~ 9.9)	127	-20.4 (-33.6 ~ -7.3)	58
	介助が必要	17.1 (1.0 ~ 33.3)	28	-5.8 (-16.3 ~ 4.8)	181

特定の難病の予後調査

中川秀昭（金沢医科大学・公衆衛生学）

難病の予後に関しては診療に係わる医師にとって重要な関心事であるが、必ずしも十分な研究が行われているとは言えない。本研究班では3の予後調査が実施された。

I g A腎症の予後調査は前大野班から引き続いて実施された。1995年の全国疫学調査で登録された患者を無作為にサンプリングした3,409人について1997年と1999年の2回にわたって追跡調査し（回収率それぞれ、82.5%、91.6%）、必要な情報が得られた2,236人について、生命・機能予後の検討が行われた。その結果4年後の慢性透析療法導入の危険因子として女性、収縮期血圧高値、高度の蛋白尿、血清総蛋白低値、血清クレアチニン値の逆数が低値、グレードの高い初回腎生検所見が認められた。またクレアチニン値逆数低下率の危険因子として男性、高度蛋白尿、血清総蛋白低値、血清クレアチニン値の逆数低値、グレードの高い初回腎生検所見が認められた。さらにCa拮抗薬服用者に透析導入リスクが高いことも指摘された。またこの結果を受けて、性、年齢、収縮期血圧、蛋白尿、尿潜血、血清蛋白、初回腎生検所見、血清クレアチニンの各要因をスコア化し、慢性透析療法導入の予測スコアを作成している。

天疱瘡では、1986年の全国疫学調査の登録患者260人を基に1997年に追跡調査が実施されたが、回収率は高かったけれども数年来外来受診がなく予後不明が6割にも上った。この予後不明例および先の調査で未回収例を対象に、住民基本台帳で生存・転出・死亡、転出日、死亡日の確認を行った。すなわち、対象者の住所地の市町村役場住民課宛に住民票確認の依頼を行った。この結果195人（82.3%）の予後が把握された。天疱瘡の生命予後要因として年齢、病型、合併症ありが報告された。

ベーチェット病では1991年全国疫学調査の登録患者中、800人を対象に1998年に追跡調査が実施されたが、外来に受診がなく予後不明が5割を占めた。このため住民

基本台帳で生存・転出・死亡、転出日、死亡日の確認を行った。この結果661人（85.2%）の予後が明らかになった。ベーチェット病の生命予後要因は男ではステロイド点眼なしが、女では年齢、シクロスポリン使用が報告された。

天疱瘡、ベーチェット病の2つの予後調査は全国疫学調査を用いて長期の追跡調査を行う場合に医療機関に紹介しても必ずしも十分に把握ができないことが多く、調査が不完全になりがちである。このため行政情報を活用することも有用であることを示した。

難病患者の予後調査の対象となるのは、①特定疾患医療受給者、②各特定疾患臨床班の班員の関連する医療機関の受診患者、③全国疫学調査二次調査で登録された患者である。

それぞれの調査で一長一短がある。特定疾患医療受給者は多数の患者の調査が可能だが、重症者に限られる、診断基準の自動チェックの有効性、個人調査票の情報の限定などの問題がある。臨床研究班の班員の関連する医療機関の受診患者を対象とする場合は調査機関の協力が最も得やすく、対象者の選定も正確で、ベースライン情報も目的にあわせた詳細な調査が実施できるが、重症者に偏りやすい、大規模に実施が困難であるなどの問題がある。全国疫学調査二次調査資料を用いる場合は、多数の患者に調査が可能、診断精度が高いなどの利点があるが、調査者とのつながりが薄い医療機関に対して広範に実施しているため、二次調査の内容が簡単になっているので必ずしも十分な情報がとれないという問題がある。

今回の予後調査の企画段階で問題となったのは個人情報保護の問題であった。特に全国疫学調査登録患者を対象に予後調査を実施することは、全国疫学調査が予後調査を前提としていなかったため最初に対象

者個人個人に同意を得ていない。しかし現実には個人個人に同意を得ることは不可能に近い。倫理委員会の審査を得ておくこと

は必要だが、これだけで十分かどうかは論議となった。

行政資料による難病の頻度調査

養輪眞澄 (国立公衆衛生院・疫学部)

要 約

難病対策を進める上で重要なことは、対象とする疾患の頻度・分布を把握することにある。そのため、既存の行政資料より難病の疫学像を知ることが必要となる。特定疾患の死亡統計および患者調査に基づく特定疾患患者数の推計について報告することとした。特定疾患の死亡統計については、資料としては人口動態調査死亡票(磁気テープ)、対象期間 1995～99年の5年間で、性別年齢階級別死亡率、性別都道府県別年齢標準化死亡比(SMR)を算出した。この場合、SMRを算出するのに用いた基準死亡率は、解析予定期間における性別・5歳階級別全国死亡率の平均とした。患者調査に基づく特定疾患患者数の推計、受療率については、資料としては平成11年患者調査を用い、特定疾患別性別総患者数の推計及び受療率とした。

キーワード: 特定疾患、死亡統計、患者調査、患者数推計

はじめに

難病対策を進める上で重要なことは、対象とする疾患の頻度・分布を把握することにある。そのため、既存の行政資料より難病の疫学像を知ることが必要となる。ICD9コードでの報告は、「既存資料の比較による難病の疫学像1996¹⁾」によって行われているが、ICD10コードでの報告はまだであった。その準備段階として特定疾患名と第10回ICDコードとの対応を行ってきた。そして、特定疾患の死亡統計および患者調査に基づく特定疾患患者数の推計について報告することとした。

方 法

1) 特定疾患名と第10回ICDコードの対応

特定疾患の死亡統計および患者調査による推計において、死因および傷病分類のために第10回修正ICD(ICD10)を用いている。特定疾患治療研究事業対象疾患名および特定疾患調査研究事業対象疾患名とICD10基本分類コードとの対応について表1で検討した。結果は、厚生省大臣官房統計情報部管理企画課疾病傷害死因分類調査室による監修に基づくものである。

2) 特定疾患の死亡統計

(1) 資料としては人口動態調査死亡票であり、厚生

省大臣官房統計情報部より、原死因が難病に相当する死因の死亡票(磁気テープ)を所定の手続きを経て入手した。対象期間は、1995～99年の5年間である。

(2) 集計としては、性別年齢階級別死亡率、性別都道府県別年齢標準化死亡比(SMR)である。この場合、SMRを算出するのに用いた基準死亡率は、解析予定期間における性別・5歳階級別全国死亡率の平均とする。

3) 患者調査に基づく特定疾患患者数の推計、受療率

(1) 資料としては平成11年患者調査であり、主傷病・副傷病に特定疾患の記載のある者を特定疾患患者とする。

(2) 集計としては、特定疾患別性別総患者数の推計及び受療率である。

(3) 総患者数(特定疾患別推計)

総患者数とは、調査日現在において、継続的に医療を受けている者(調査日には医療施設を受療していない者も含む。)の数を次の算式により推計したものである。総患者数は千人単位で表している。

総患者数 = 入院患者数 + 初診外来患者数 + 再来外来患者数 × 平均診療間隔 × 調整係数(6/7)

(4) 受療率

推計総患者数を人口で除して人口10万対であらわした数とする

受療率(人口 10 万対) = 推計患者数/推計人口
×100,000

結 果

この場合、人口 10 万対算出のため用いた人口は、1. 特定疾患名と ICD10 基本分類コードとの対応を総務庁統計局「平成 11 年 10 月 1 日現在推計人口」とする。

表 1-1 特定疾患名と ICD10 基本分類コードの対応

特定疾患名	ICD10 基本分類コード
ベーチェット病	M35.2 ベーチェット病
多発性硬化症	G35 多発性硬化症
重症筋無力症	G70.0 重症筋無力症
全身性エリテマトーデス	M32 全身性エリテマトーデス(紅斑性狼瘡)
スモン	G62.0 スモン
再生不良性貧血	D61.3 特発性再生不良性貧血
サルコイドーシス	D86 サルコイドーシス
筋萎縮性側索硬化症	G12.2 運動ニューロン疾患
強皮症	M34 全身性硬化症
	L94.0 斑状強皮症[モルフェア]
	L94.1 線状強皮症
	L94.9 限局性結合組織障害、詳細不明
皮膚筋炎及び多発性筋炎	M33 皮膚(多発性)筋炎
特発性血小板減少性紫斑病	D69.3 特発性血小板減少性紫斑病
結節性動脈周囲炎	M30.0 結節性多発(性)動脈炎
潰瘍性大腸炎	K51 潰瘍性大腸炎
大動脈炎症候群	M31.4 大動脈弓症候群(高安病)
ビュルガー病	I73.1 閉鎖性血栓血管炎[ビュルガー<バージャー>病]
天疱瘡	L10 天疱瘡
脊髄小脳変性症	G11.1 早発性小脳性運動失調(症)
	G11.2 晩発性小脳性運動失調(症)
	G11.4 遺伝性けい<瘧>性対麻痺
	G11.8 その他の遺伝性運動失調(症)
	G11.9 遺伝性運動失調(症)、詳細不明
クローン病	K50 クローン病[限局性腸炎]
難治性の肝炎のうち劇症肝炎	B15.0 急性A型肝炎、肝性昏睡を伴うもの
	B16.0 急性B型肝炎、デルタ因子(重複感染)、肝性昏睡
	B16.2 急性B型肝炎、デルタ因子を伴わず、肝性昏睡
	B17.1 急性C型肝炎
	B17.2 急性E型肝炎
	B17.8 その他の明示された急性ウイルス肝炎
	B19.0 詳細不明のウイルス肝炎、昏睡を伴うもの
	B19.9 詳細不明のウイルス肝炎、昏睡を伴わないもの
	K70.4 アルコール性肝不全
	K71.1 肝え<壊>死を伴う中毒性肝疾患
	K72.0 急性および亜急性肝不全
	K72.9 肝不全、詳細不明
悪性関節リウマチ	M05.3 その他の臓器および器官系の併発症を伴う慢性関
パーキンソン病	G20 パーキンソン病
アミロイドーシス	E85 アミロイドーシス<アミロイド症>

後縦靱帯骨化症	M48.8A	後縦靱帯骨化症
ハンチントン舞踏病	G10	ハンチントン病
ウイルス動脈輪閉塞症	I67.5	もやもや病<ウイルス動脈輪閉塞症>
ウェゲナー肉芽腫症	M31.3	ウェゲ<ジ>ナー肉芽腫症
特発性拡張型心筋症	I42.0	拡張型心筋症
シャイ・ドレーガー症候群	G23.2	線状体黒質変性(症)
表皮水疱症	Q81	表皮水疱症
膿疱性乾癬	L40.1	全身性膿胞性乾せん<癬>
広範脊柱管狭窄症	M48.0	脊柱管狭窄(症)
原発性胆汁性肝硬変	K74.3	原発性胆汁性肝硬変
重症急性膵炎	K85	急性膵炎
特発性大腿骨頭壊死症	M87.0A	特発性大腿骨頭壊死症
混合性結合組織病	M35.1A	混合性結合組織病
原発性免疫不全症候群	D71	多(形)核好中球機能障害
	D72.9	白血球の障害、詳細不明
	D80	主として抗体欠乏を伴う免疫不全症
	D81	複合免疫不全症
	D82	その他の大きな欠陥に関連する免疫不全症
	D83	分類不能型免疫不全症
	D84	その他の免疫不全症
	D89	その他の免疫機構の障害、他に分類されないもの
	E70.3	白皮症
特発性間質性肺炎	J84.1B	特発性間質性肺炎
網膜色素変性症	H35.5	遺伝性網膜ジストロフィ
クロイツフェルト・ヤコブ病	A81.0	クロイツフェルト・ヤコブ病
原発性肺高血圧症	I27.0	原発性肺高血圧(症)
神経線維腫症	Q85.0	神経線維腫症(非悪性)
亜急性硬化性全脳炎	A81.1	亜急性硬化性全脳炎(SSPE)
バッド・キアリ症候群	I82.0	バッド・キアリ症候群
特発性慢性肺血栓栓症	I26.9	急性肺性心と記載のない肺塞栓症
	I27.8	その他の明示された肺性心疾患
ファブリー(Fabry)病	E75.2	その他のスフィンゴリビドーシス

表 1-2 特定疾患調査研究事業対象疾患名と ICD10 基本分類コードとの対応

特定疾患調査研究事業対象疾患名	ICD10 基本分類コード
溶血性貧血	D55-D59 溶血性貧血
不応性貧血	D46.0-D46.4 鉄芽球を伴わない不応性貧血と記載
	D46.4 不応性貧血、詳細不明
骨髄線維症	C94.5 急性骨髄線維症
	D47.1 慢性骨髄増殖性疾患
	D75.8 血液および造血器のその他の明示された疾患
特発性血栓症	D75.8 血液および造血器のその他の明示された疾患
血栓性血小板減少性紫斑病	M31.1 血栓性微小血管障害
アレルギー性肉芽腫性血管炎	M30.1 肺の併発症を伴う多発動脈炎
側頭動脈炎	M31.5-M31.6 リウマチ多発筋痛症を伴う巨細胞性動脈炎
抗リン脂質抗体症候群	D89.8 その他の明示された免疫機構の障害
シェーグレン症候群	M35.0 乾燥症候群[シェーグレン症候群]
成人スチル病	M06.1 成人発症スチル病

偽性副甲状腺機能低下症	E20.1	偽性副甲状腺<上皮小体>機能低下症
ビタミンD受容機構異常症	E83.3	リン代謝障害
	E83.5	カルシウム代謝障害
TSH受容体異常症	E07.8	その他の明示された甲状腺障害
甲状腺ホルモン不応症	E07.8	その他の明示された甲状腺障害
プロラクチン分泌異常症	E22.1	高プロラクチン血症
ゴナドトロピン分泌異常症	E22.8	その他の下垂体機能亢進症
	E23.0	下垂体機能低下症
抗利尿ホルモン分泌異常症	E22.2	高利尿ホルモン不適合分泌症候群
原発性アルドステロン症	E26.0	原発性アルドステロン症
偽性低アルドステロン症	E26.1	続発性<二次性>アルドステロン症
家族性グルココルチコイド抵抗症	E27.0	その他の副腎皮質機能亢進症
副腎酵素欠損症	E25.0	酸素欠損による先天性副腎性器障害
副腎低形成(アジソン病)	E27.1	原発性副腎皮質機能不全(症)
中枢性摂食異常症	F50(F50.0-F50.9)	摂食障害
原発性高脂血症	E78(E78.0-F78.5)	リポ蛋白代謝障害およびその他
ゲルスマン・ストロイスラー・シャインカー病	A81.8	中枢神経系その他のスローウイルス感染症
致死性家族性不眠症	A81.8	中枢神経系その他のスローウイルス感染症
亜急性硬化性全脳炎	A81.1	亜急性硬化性全脳炎(SSPE)
進行性多巣性白質脳症	A81.2	進行性多巣性白質脳症
脊髄性進行性筋萎縮症	G12.2	運動ニューロン疾患
球脊髄性筋萎縮症	G12.1	その他の遺伝性脊髄性筋萎縮症
脊髄空洞症	G95.0	脊髄空洞症および延髄空洞症
進行性核上性麻痺	G23.1	進行性核上性(眼筋)麻痺
線条体黒質変性症	G23.2	線条体黒質変性(症)
ペルオキシソーム病	E71.3	脂肪酸代謝障害
	E74.8	その他の明示された糖質代謝障害
	E80.3	カタラーゼおよびペルオキシダーゼ欠損症
	G60.1	レフサム病
	Q77.3	点状軟骨異形成<形成異常>(症)
	Q87.8	その他の明示された先天奇形症候群
ギラン・バレー症候群	G61.0	ギラン・バレー症候群
ライソゾーム病	E75-E77	スフィンゴリピド代謝障害およびその他
フィッシャー症候群	G61.0	ギラン・バレー症候群
慢性炎症性脱髄性多発神経炎	G61.8	その他の炎症性多発(性)ニューロパチ<シ>ー
多発限局性運動性末梢神経炎	G61.8	その他の炎症性多発(性)ニューロパチ<シ>ー
クロー・フカセ症候群	C90.2	形質細胞腫、髄外性
正常圧水頭症	G91.2	正常圧水頭症
加齢黄斑変性	H35.3	黄斑および後極の変性
難治性視神経症	H46	視神経炎
	H47.0	視神経の障害、他に分類されないもの
	H47.2	視神経萎縮
	H48	他に分類される疾患における視神経及び障害
メニエール病	H81.0	メニエール病
遅発性内リンパ水腫	H81.0	メニエール病
突発性難聴	H91.2	突発性難聴(特発性)
特発性両側性感音難聴	H90.3	両側性感音難聴
肥大型心筋症	I42.1-I42.2	閉鎖性肥大型心筋症、その他の肥大型心筋症

拘束型心筋症	I42.3-I42.5 心内膜心筋(好酸球性)疾患、その他
ミトコンドリア病	E88.8 その他の明示された代謝障害
	G31.8 神経系のその他の明示された変性疾患
	G40.4 その他の全身性てんかん、てんかん症候群
	H49.8 その他の麻痺性斜視
ファブリー病	E75.2 その他のスフィンゴリピドーシス
家族性突然死症候群	I49.0 心室細動および粗動
びまん性汎細気管支炎	J44.8 その他の明示された慢性閉塞性肺疾患
若年性肺気腫	J43.0-J43.2 マクロード症候群、汎(中心)小葉性肺気腫
	J43.8-J43.9 その他の肺気腫、肺気腫、詳細不明
ヒスチオサイトーシスX	C96.0 レッテラー・ジーベ病
	D76.0 ランゲルハンス細胞組織球症、その他
肥満低換気症候群	E66.2 肺胞低換気を伴う過度肥満(症)
肺胞低換気症候群	G93.8 脳のその他の明示された障害
自己免疫性肝炎	K73.2-K73.2A 慢性活動性肝炎、ルポイド肝炎
特発性門脈圧亢進症	K76.6 門脈圧亢進(症)
肝外門脈閉塞症	I81 門脈血栓症
	Q26.5 門脈還流<結合>異常(症)
肝内結石症	K80.5-K80.5A 胆管炎、胆嚢炎を伴わない胆管・肝内結石
肝内胆管障害(原発性硬化性胆管炎)	K83.0 胆管炎
膵嚢胞線維症	E84.8 その他の症状発現を伴うのう<嚢>胞性線維症
慢性膵炎	K86.0-K86.1 アルコール性慢性膵炎、その他の慢性膵炎
好酸球性筋膜炎	M35.4 びまん性(好酸球増加性)筋膜炎
硬化性萎縮性苔癬	L90.0 硬化萎縮性苔せん<癬>
神経線維腫症 I 型、II 型	Q85.0 神経線維腫症(非悪性)
結節性硬化症	Q85.1 結節性硬化症
黄色靱帯骨化症、前縦靱帯骨化症	M48.8B その他の明示された脊椎障害、その他
特発性ステロイド性骨壊死症	M87.1 薬物による骨えく壊>死
IgA 腎症	N02 反復性および持続性血尿
急速進行性糸球体腎炎	N01 急速進行性腎炎症候群
難治性ネフローゼ症候群	N04 ネフローゼ症候群
	N08 他に分類される疾患における糸球体障害
多発性嚢胞腎	Q61.1-Q61.3 (多)嚢胞腎、(乳)幼児型、成人型、病型不明

なお、ICD10 内容例示表以外では、次のものを参考とした。

・厚生省保健医療局疾病対策課監修、難病医学研究財団企画委員会編集「難病の診断と治療指針」、ICD-10 索引 (Volume3) 原本及び日本語版

2. 特定疾患の死亡統計

性別年齢階級別死亡率、性別都道府県別年齢標準化死亡比 (SMR) についての詳細は、平成 13 年度業績集を参照。

3. 患者調査に基づく特定疾患患者数の推計、受療率

推計総患者数、受療率についての詳細は、平成 13 年度業績集を参照。

まとめ

難病対策を進める上で重要なことは、対象とする疾患の頻度・分布を把握することにある。そのため、既存の行政資料より難病の疫学像を知ることが必要となる。特定疾患の死亡統計および患者調査に基づく特定疾患患者数の推計について報告することとした。特定疾患については、特定疾患治療研究事業対象疾患および特定疾患調査研究事業対象疾患を対象とした。特定疾患の死亡統計については、資料としては人口動態調査死亡票(磁気テープ)、対象期間 1995～99 年の 5 年間で、性別年齢階級別死亡率、性別都道府県別年齢標準化死亡比

(SMR)を算出した。この場合、SMRを算出するのに用いた基準死亡率は、解析予定期間における性別・5歳階級別全国死亡率の平均とした。患者調査に基づく特定疾患患者数の推計、受療率については、資料としては平成11年患者調査を用い、特定疾患別性別総患者数の推計及び受療率とした。

文 献

- 1) 稲葉裕,大野良之編集:難病の記述疫学-既存資料による比較を中心に-。厚生省特定疾患調査研究事業特定疾患に関する疫学研究班,1997.
- 2) 日本の疾病別総患者数データブック。東京:厚生統計協会,1995.

An investigation on the frequency of intractable diseases based on existing materials published by Ministry of Health, Labour and Welfare

Minowa Masumi (Epidemiology, National Institute of Public Health)

To take effective measures to cope with intractable diseases, it is important to grasp the frequency and the distribution of relevant diseases. For that purpose, it becomes necessary to obtain enough knowledge of epidemiological characteristics of intractable diseases through existing materials published by Ministry of Health, Labour and Welfare.

A report based on ICD-9 codes has already been presented in our previous paper "Epidemiological Characteristics of Intractable Diseases Clarified by Making a Comparison between Existing Materials 1996". However, a report based on ICD-10 codes has remained to be made. Therefore, this time, we have carried out the correspondence between names of intractable diseases and ICD-10 codes, and estimated the number and mortality rate(SMR) of patients suffering from intractable diseases, based on statistics of mortality and the survey on patients.

Key words : intractable diseases, statistics of mortality, the survey on patients, an estimation about the number of Intractable Diseases patients

NF1 定点モニタリング、呼吸不全調査研究班、難治性の肝疾患に関する研究班との共同研究

縣 俊彦（東京慈恵会医科大学・環境保健医学講座）

要 約

神経皮膚症候群研究班と共同で NF1（神経線維腫症 1）患者の 1994 年から 2000 年の動向を把握すべく、NF1 定点モニタリング調査を実施し、その推移を検討した。定点モニタリング調査の回収率は 65%（46/71，拒否 1）で、97 年（68%）と同等である。把握患者は 455 名である。定点モニタリングについて概観すると、その目的のうち、全国調査の代替が可能かについては検討中で結論は得られていない。情報収集体制整備は進んでいると考えられる。疫学像の推移の大まかな傾向は把握できるものとする。単独把握者（2000 年）と継続把握者（97 年、2000 年）について比較すると、調査時年齢、初診年齢など各種年齢を含め、全般的には 2 群には大きな差は見られない。

呼吸不全班との共同研究では、慢性肺気腫を含む COPD（慢性閉塞性肺疾患）の全国疫学調査を行い、日本での慢性肺気腫、慢性気管支炎、混合型の実態を明確にし、1 次調査の結果から推計受療患者数を報告した。また、在宅人工呼吸療法、非侵襲人工換気療法の全国調査；1 次調査に関連し、患者数推計も行った。

難治性の肝疾患に関する研究班と共同で原発性胆汁性肝硬変（PBC）に対するベザフィブラート（BF）の臨床研究として 1. PBC 患者における BF 単独療法とウルソデオキシコール酸（UDCA）単独療法の比較検討（無作為化 2 群比較試験）、2. UDCA 治療患者における BF 併用療法と BF 非併用療法の比較検討（同上）、の 2 通りの試験を実施しており、主として統計解析を担当している。

キーワード：神経線維腫症、定点モニタリング、呼吸不全、難治性肝疾患、全国調査

目 的

定点モニタリングに関しては、厚生省神経皮膚症候群調査研究班は平成 8 年度に大幅な改定が行われ、厚生省皮膚・結合組織疾患調査研究班 神経皮膚症候群分科会 となった。疾患対策も従来の 4 項目（1. 調査研究の推進、2. 医療設備の整備、3. 医療費の自己負担の解消、4. 地域における保健医療福祉の充実・連携）に加え、5 番目として、『QOL の向上を目指した福祉施策の推進』が追加された。また、神経皮膚症候群分科会が担当する神経線維腫症も治療対象研究疾患（平成 10

年 5 月）となり、その患者実態の詳細把握は急務となった。そして、全国疫学調査に加え、継続的モニタリング調査も実施されることとなった。

その主な目的は

1. NF1 の定点モニタリングが全国疫学調査の代替となるかを検討する。
2. 継続的情報収集体制の整備をする。
3. 患者数、疫学情報、臨床情報等の経年推移を把握する である。

今回はその全体の流れを検討すると共に、特に 3 の目的に関連して、97 年、2000 年モニタリング調査で把握された患者に関し、単独把握者（2000 年）と継続把握者（97 年、2000

年) についてその特性を明確にすることを目的とする。

呼吸不全班との共同研究では、慢性肺気腫を含む COPD (慢性閉塞性肺疾患) の全国疫学調査を行い、日本での慢性肺気腫、慢性気管支炎、混合型の実態の明確にする。1次調査の結果から推計受療患者数を報告する。また、在宅人工呼吸療法、非侵襲人工換気療法の全国調査; 1次調査に関連し患者数推計も行うなどを目的とする。

難治性の肝疾患に関する研究班と共同で原発性胆汁性肝硬変 (PBC) に対するベザフィブラート (BF) の臨床研究として 1. PBC 患者における BF 単独療法とウルソデオキシコール酸 (UDCA) 単独療法の比較検討 (無作為化 2 群比較試験)、2. ウルソデオキシコール酸 (UDCA) 治療患者における BF 併用療法と BF 非併用療法の比較検討 (無作為化 2 群比較試験)、の 2 通りの試験を実施しており、主として統計解析を担当している。

方 法

NFI 定点モニタリングに関しては 94 年全国調査、97、2000 年モニタリング調査から、モニタリング調査が、その目的と合致した成果が得られているか検討する。また、2000 年の NFI モニタリング調査での把握患者 (455 名) について、2000 年のみの把握患者 (357 名) と 97 年の調査との継続把握者 (98 名) とについて、性、年齢、家族歴、診断、受療状況、経過等を比較検討した。プログラムパッケージは SAS8.0 を用いた。

呼吸不全班との共同研究では、患者数推計を担当し、超幾何分布により推計する。難治性の肝疾患に関する研究班との研究では、臨床試験の統計解析部門を担当する。

結 果

定点モニタリング調査の回収率: 65% (46/71, 拒否 1)、94

年調査の 58% に比べれば回収率は高いが、97 年 (68%、49/72) とほぼ同等である。

把握患者は 455 名で、97 年モニタリング調査 369 名より多くなっている。報告患者の半数以上が皮膚科からで、300 名を超えている。次いで、眼科、形成外科などが多い。

モニタリングの目的 1. に関しては、検討を重ねる段階で結論は得られていない。2. に関しては、対象施設とのコンタクトも比較的順調である。3. については、今回公費負担受給者の増加が明確になるなど大まかな傾向は把握できるものと考ええる。

また、2000 年のみの把握患者と 97 年の調査との継続把握者についての各種年齢、性、家族歴、結婚歴、子供有無、初診医療機関に関しては表 1 に示す。調査時年齢、初診年齢は、2000 年調査単独把握で数値的にはやや高い傾向が見られるがいずれも有意な差は認められない。家族歴ありは 2000 年単独把握群に低い傾向が見られ、その影響か、既婚の割合、子供ありの割合も高い傾向が見られる。また、初診機関貴施設の割合が 2000 年単独把握群に高い。

また、治療費公費負担ありの割合が 2000 年単独把握群に低い。受療状況では単独把握群に主に入院、死亡などが、多い傾向が見られ、社会生活では困難が、多い傾向が見られている。また、経過でも急速に悪化、死亡などが単独把握群に多い傾向が見られている。

呼吸不全研究班との共同研究では、患者推計の式は表 2 のごとくで結果は、情報の安定している病床数 200 床以上で推計すると回収率は 48.9% (573/1171)、95% 信頼区間で肺気腫 6.03-9.36 万人、気管支炎 2.94-4.36 万人、混合型 0.86-1.56 万人である。

また、在宅人工呼吸療法、非侵襲人工換気療法、の受療患者数を多項超幾何分布で推計したものを表 3 にしめす。回収率は 20.4% (674/3298) である。

難治性の肝疾患に関する研究班との

共同研究、原発性胆汁性肝硬変(PBC)に対するベザフィブラート(BF)の臨床研究として1. PBC患者におけるBF単独療法とウルソデオキシコール酸(UDCA)単独療法の比較検討(無作為化2群比較試験)、2. ウルソデオキシコール酸(UDCA)治療患者におけるBF併用療法とBF非併用療法の比較検討(無作為化2群比較試験)、の2通りの試験はいずれも症例登録が終了した段階で研究は遂行中であるが、統計解析の段階には至っていない。

考 察

NFIに関する研究は今まで、数多く行われてきているが、全国調査、モニタリング調査による、全般的傾向を検討しているものは著者ら以外には見られない¹⁹⁾。定点モニタリングについて概観すると、その目的のうち、1. についてはまだ検討を重ねる段階で結論は得られていない。2. に関しては、対象施設とのコンタクトも比較的順調であり、整備体制は進んでいると考えて良いであろう。3. については、回を重ねる度に、大まかな傾向は把握できるものとする。また、今回のよう

な2群間の解析では、前回(97年単独群と、94,97年継続群)では継続群のほうが重症化した患者を把握することとなったが、今回は、必ずしも明確な傾向は見られず、どちらかという単独群のほうがやや重症の傾向を示している。

呼吸不全研究班との共同研究での、COPD患者数推計は確認調査も行き、回収率は48.9%(573/1171)であるので、ある程度信頼できるであろう¹⁹⁾²⁵⁾。

また、在宅人工呼吸療法、非侵襲人工換気療法の受療患者数を多項超幾何分布で推計したが、回収率の低さ(20.4%)が問題となる²⁶⁾²⁷⁾。

難治性の肝疾患に関する研究班との共同研究、原発性胆汁性肝硬変(PBC)に対するベザフィブラート(BF)の臨床研究は、研究遂行中であるので、今後の結果を待ちたい。

表1. 単独・継続把握と各種年齢、性、家族歴、結婚歴、子供有無、初診医療機関

	2000年単独把握	97,2000年継続把握	有意性
調査時年齢	27.7±20.6	25.1±16.2	p=0.176
発症年齢	4.5±8.2	5.1±8.8	p=0.591
初診年齢	17.7±15.0	15.7±14.4	p=0.265
診断年齢	15.7±14.4	15.7±15.0	p=0.995
性：男	43.4%(157/357)	42.9%(42/98)	p=0.909
家族歴：あり	35.0%(115/329)	42.3%(41/97)	p=0.167
結婚歴：未婚	68.7%(226/329)	78.1%(75/96)	p=0.240
既婚	17.9(59)	10.4(10)	
離別	0.6(2)	0.0(0)	
不明	12.8(42)	11.5(11)	
子供：あり	14.9%(49/329)	9.3%(9/97)	p=0.298
初診機関：貴施設	46.8%(160/342)	30.0%(27/90)	p=0.000