

表23 評価の高低と認定の関係

	治療対象疾患	非治療対象疾患	計
上位 48 疾患	24	24	48
下位 71 疾患	27	44	71
計	51	68	119

p=0.195

表24 難病の周辺疾患の追加

都道府県で補助 47 疾患 (うち 15 疾患は疾患単位として評価不可能のため除外)

臨床班の班長による追加 5 疾患

計 37 疾患

表25 周辺疾患を含めた順位

順位	総合評価値	認定年	疾患名
1	0.73	1997	クワイフェルト・ヤフ病 (CJD)
2	0.72		リトース
3	0.67	.	ゲルスマン・ストロイスラー・ジヤインカー病 (GSS)
4	0.67	.	致死性家族性不眠症
5	0.66	.	進行性多巣性白質脳症 (PML)
6	0.65		ピック病
7	0.63		進行性筋ジストロフィー
8	0.61	.	グルコルコイト抵抗症
9	0.59	.	拘束型心筋症
10	0.54		原発性腸リンパ管拡張症
11	0.54	.	血栓性血小板減少紫斑病 (TTP)
12	0.53	1987	表皮水疱症
13	0.53	.	遅発性内リンパ腫
14	0.52	.	シェーグレン症候群
15	0.52	.	進行性核上性麻痺
16	0.52	1975	結節性動脈囲炎
17	0.51		軟骨無形成症
18	0.50	1995	特発性間質性肺炎
19	0.50		強直性脊髄炎
20	0.50	.	骨髄線維症


 は治療対象疾患
 は周辺疾患

図1 階層構造図

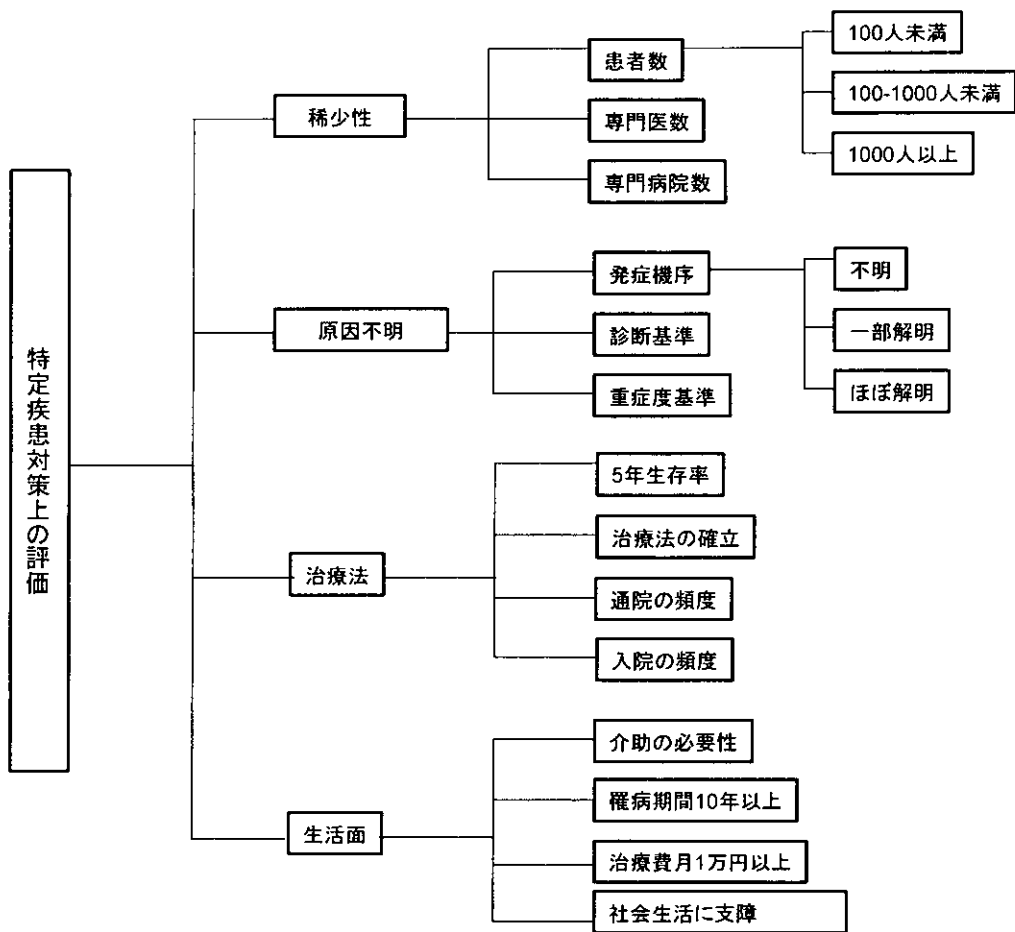


図2 難病の4要素の重み付け

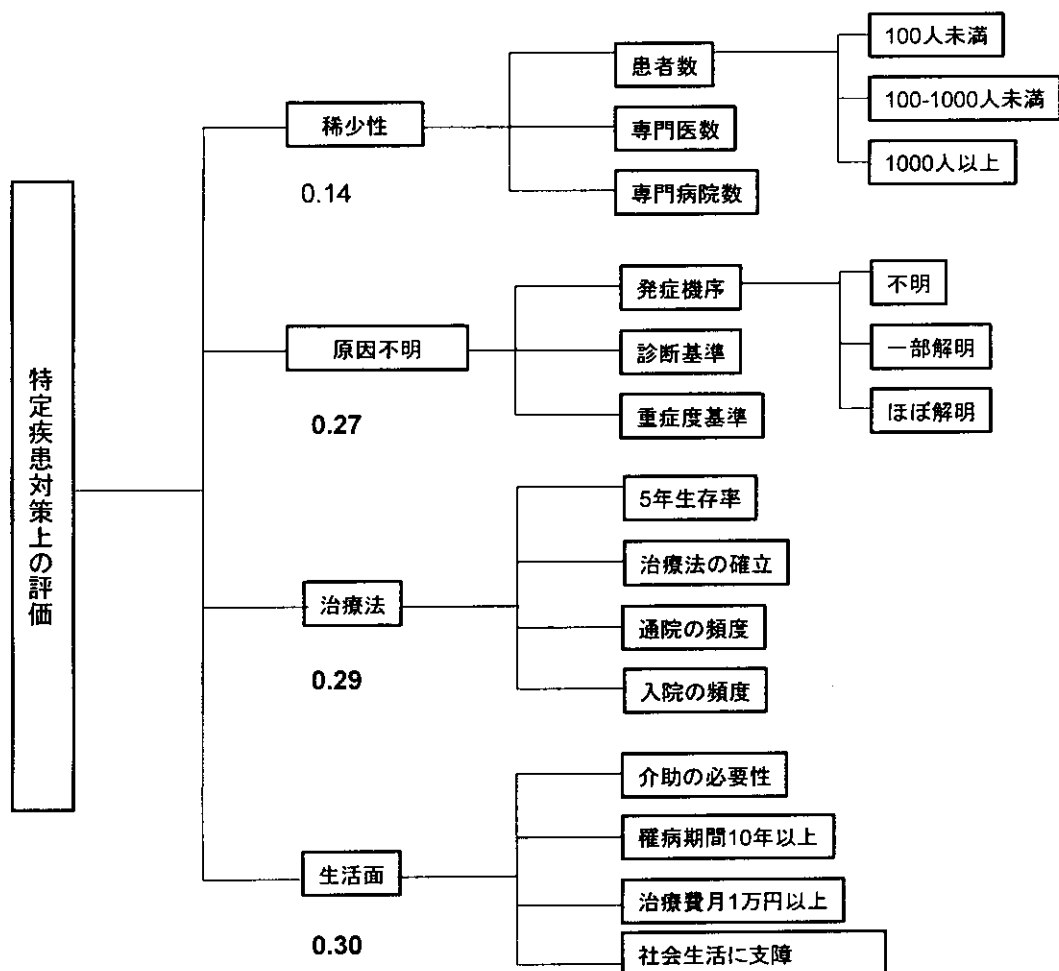


図3 稀少性を規定する要素の重み付け

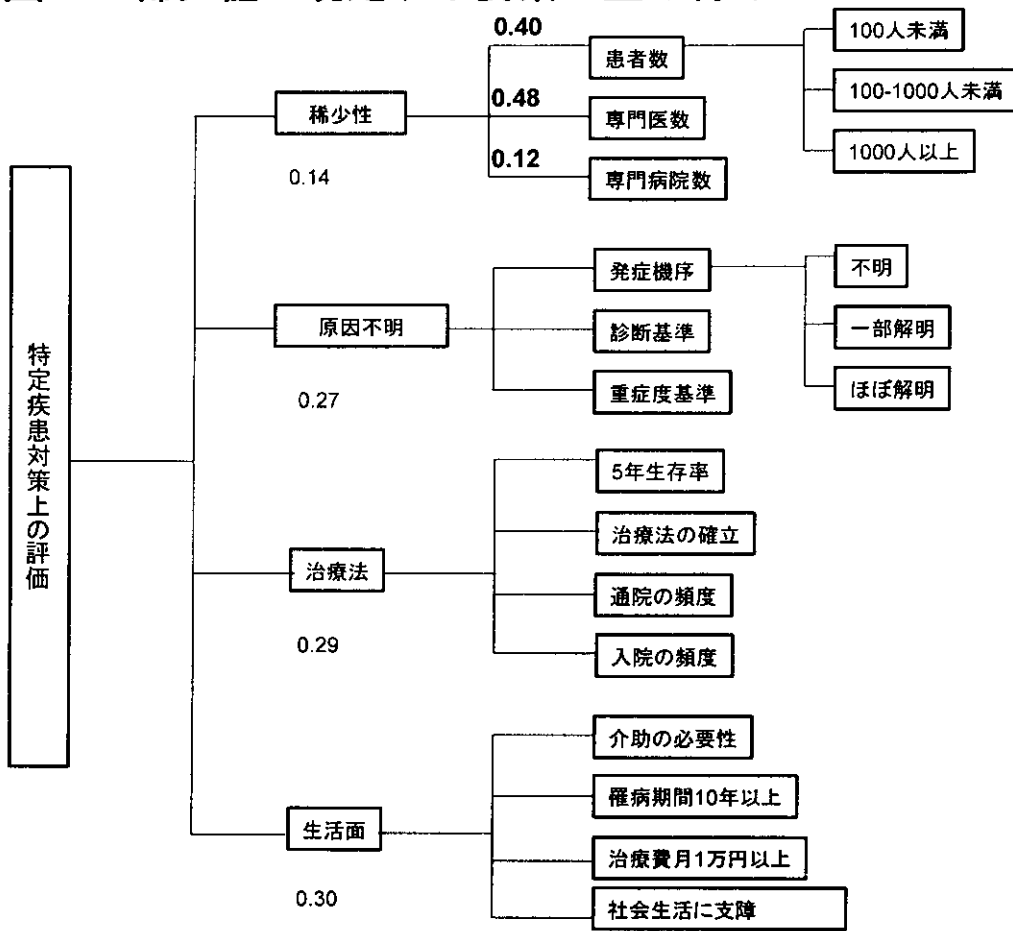


図4 難病の4要素を規定する要素の重み付け

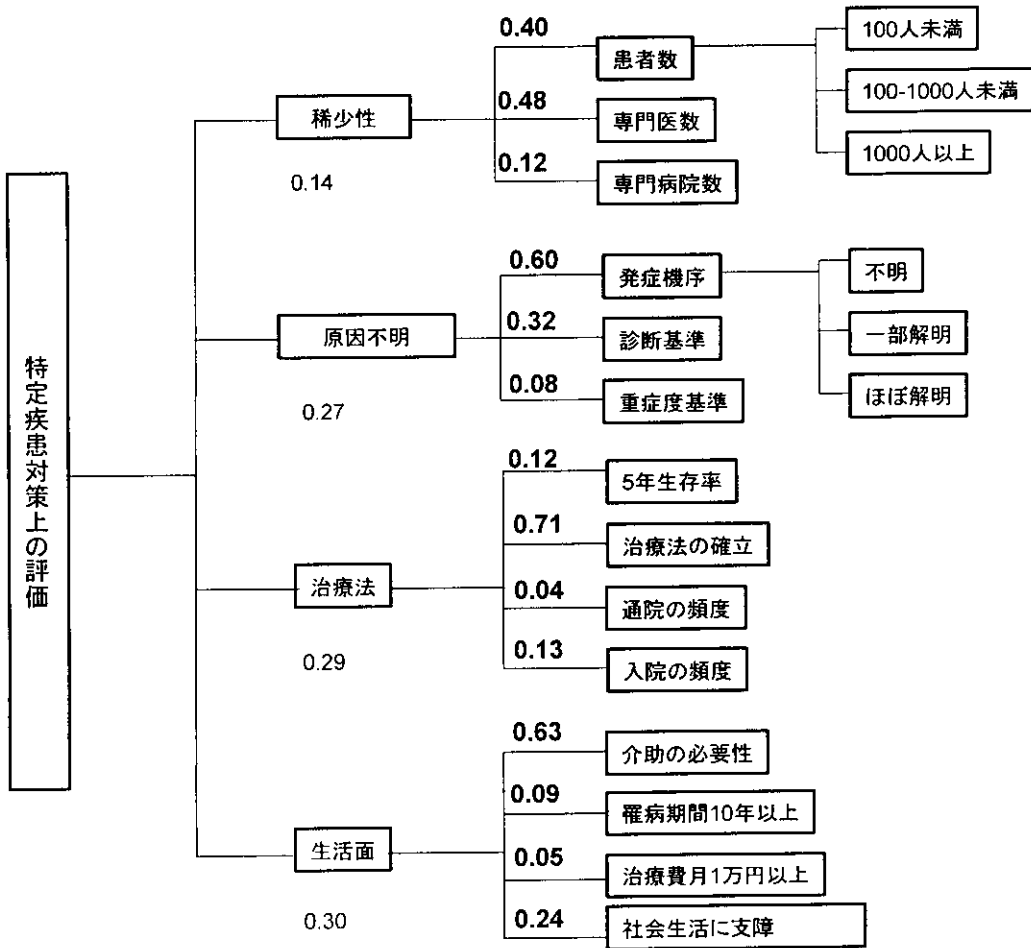


図5 臨床班の班長による回答の重み付け

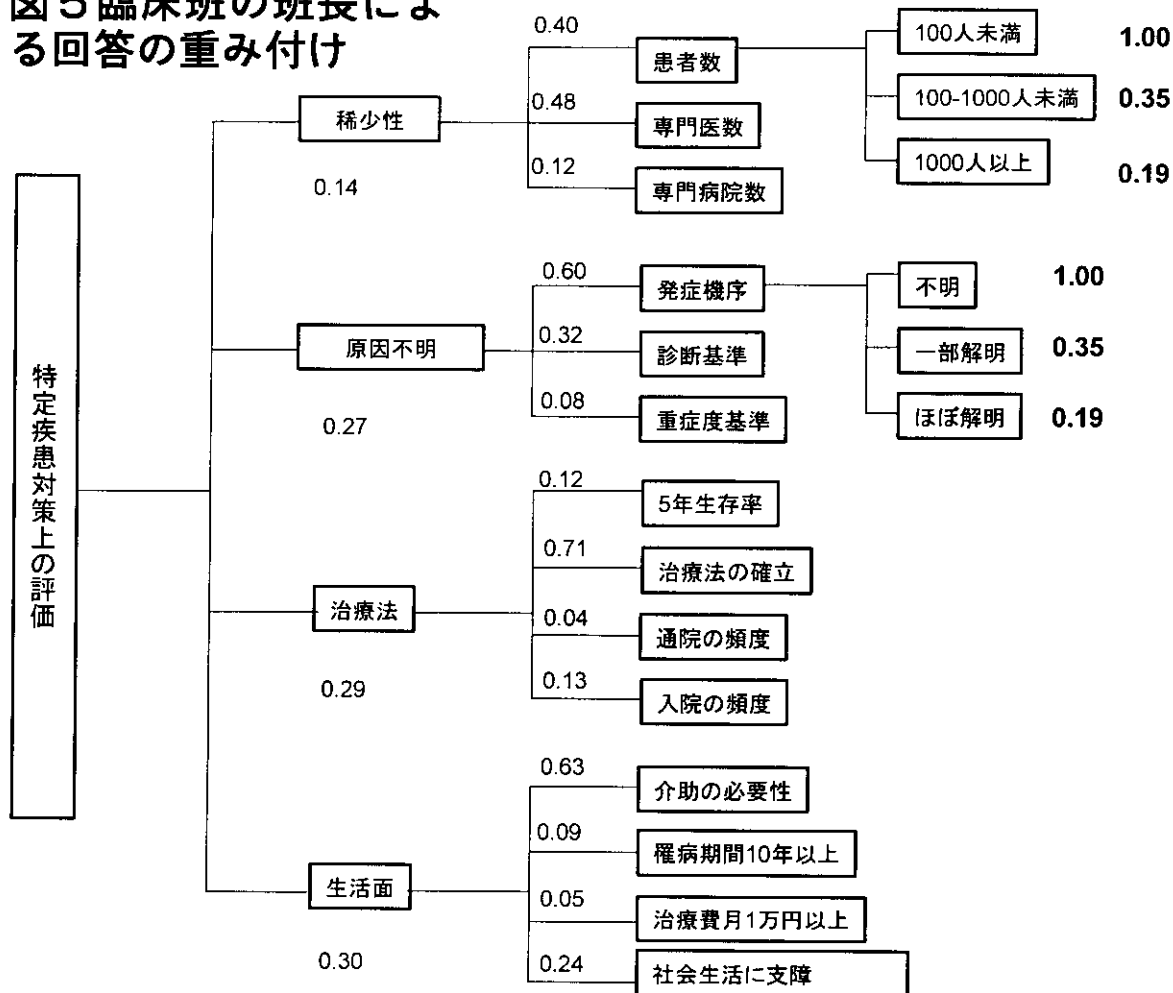


図6 治療対象疾患認定年と総合評価値の関係

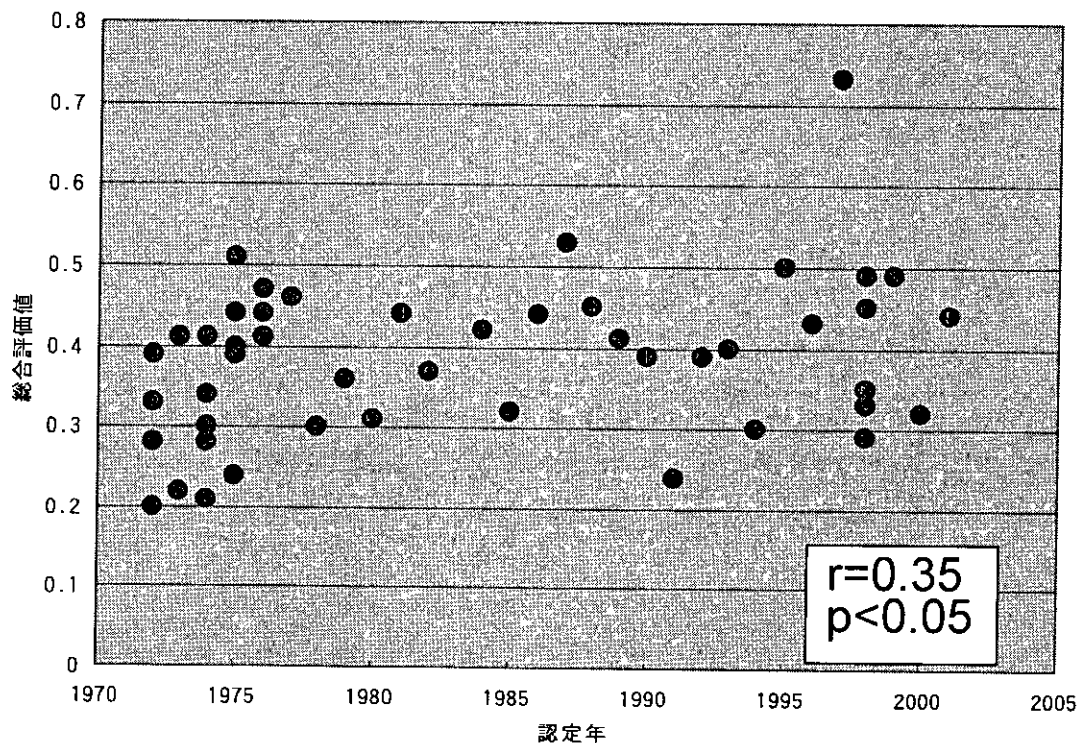
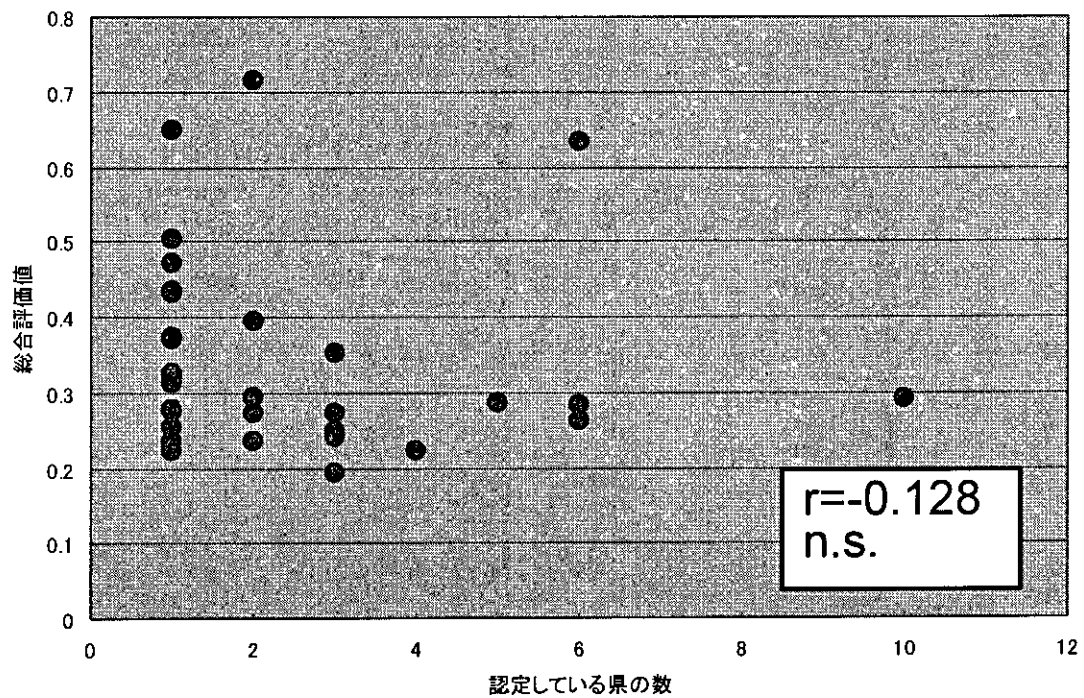


図7 認定している県の数と総合評価値の関係



主任研究者 杉田 稔 東邦大学医学部衛生学教授

研究要旨：特定疾患対策対象疾患(難病)の疾病対策上の優先順位を評価する目的で、全国の大学医学部(医育機関)の衛生学・公衆衛生学関係者に対して、難病対策の優先順位をつけるための重み付けの調査を行なった。また、難病の臨床班の班長に対して難病の実状を把握するための調査を行い、両者の回答から AHP(Analytic Hierarchy Process)により難病対策の優先順位を付けた。難病対策の「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素の重みづけは、100点満点とした場合、それぞれの平均値は14.5、27.1、28.5、29.9点となり、疾患の稀少性が最も低い重みづけとなった。各要素内でのその要素を把握する項目の重要度を評価したところ、「疾患の稀少性」の要素では、「全国の患者数が少ないこと」と「全国の専門医数が少ないこと」が、「原因・病態の解明度」の要素では、「発症機序が解明されていないこと」と「診断基準が確立されていないこと」が、「治療法の未確立」の要素では、「有効と考えられる治療法が無いこと」と「5年生存率が低いこと」が、「生活面への影響」の要素では、「日常生活で介助の必要な患者の割合が高いこと」と「就労・就学(社会参加)に支障をきたす患者の割合が高いこと」が重要となった。臨床班の班長に対する難病の実状調査にこの結果を合わせることにより、119疾患の難病対策上の優先順位を評価したところ、現在医療費補助がある治療対象疾患が上位を占めることはなく、難病対策を見直す必要性が示唆された。

武藤孝司	順天堂大学医学部	助教授
吉田勝美	聖マリアンナ医科大学	教授
田村 誠	国際医療福祉大学	教授
宮川公男	麗澤大学	教授

A.目的

特定疾患対策対象疾患(難病)は、原因不明、治療法未確立、後遺症残存のおそれ大きい、経過が慢性で経済的負担、介護などの家庭の負担、精神的負担が大きい疾患であると「難病対策要綱」¹⁾で規定されている。1972年にスモン、ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、多発性硬化症、再生不良性貧血、サルコイドーシス、難治性肝炎の8疾患より始まり、2001年には119疾患となっている。そのうちの46疾患については治療研究対象疾患として、医療費の

自己負担分に対して公費負担が行われている。この4半世紀の間には医学・医療の進歩により病因の解明や治療法の開発が進み、もはや「難病」とは呼び難い疾病もある。さらに公費負担が難病対策研究そのものの負担になってくるに至り、難病対策の見直しが求められるようになってきた。そこで、本研究では、この見直しに関する評価方法を開発することと現在の難病対策を評価することを目的とした。

B.研究方法

難病対策の優先順位をより客観的に評価するために、1)難病対策を4つの要素に整理し、各々の相対的な重要度を決定し、2)各難病の実状を調査し、3)これらを総合して各疾患の難病対策における優先順位を評価するという手順を踏んだ。まず、「難病対策要綱」から難病対策を規定する要

素を疾患の、1)稀少性が高いこと、2)原因・病態の解明度が低いこと、3)有効な治療法がないこと、4)生活面への影響が大きいことの4要素とした。著者らの関係する衛生学・公衆衛生学関係者28名に対し予備調査を行い、調査票の妥当性、再現性に検討を加え、最終的な調査票を作成した後、全国の大学の医学部(医育機関)の衛生学・公衆衛生学関係者に対して質問票を送付した。対象者は各教室の有給助手以上の者とした。衛生学・公衆衛生学関係者に対する質問項目を別表に示す。質問の内容は大きく分けて、難病の対策研究を進める観点から、1)難病対策を構成する要素(例えば疾患の稀少性)を具体的に把握するための項目(疾患の稀少性では専門医数が少ないことなど)の重要度を問う質問と、2)難病の対策研究を進めていく上での難病対策の各要素の相対的重要度を問う質問(100点満点での配点)、および3)回答者の属性を尋ねる質問項目である。項目の重要度の評価は一対比較法を用いた。各要素の相対的重要度は各要素に配分する得点を100点満点で配分する方法で配点を決定した。

一方、難病の実状を調査するために、特定疾患対策研究事業対象119疾患の分科会長(臨床班の班長)に質問票を送付した。調査項目の内容は、衛生学・公衆衛生学関係者に対して行なった質問項目に関し、各担当疾患の実状を尋ねるものである。別表に質問票を示す。表1に対象者と質問内容をまとめた。難病の特性上、回答し難く、回答不能となる可能性が考えられたので、なるべく回答しやすいような回答のカテゴリーを設定した。

これらの調査の結果を回収し、衛生学・公衆衛生学関係者による難病対策の要素の重み付けと臨床班長の各難病の実状の二つを考慮して難病対策上の各疾患の評価を行なった。難病の対策上の優先度を評価するにあたってはAHP(Analytic Hierarchy Process²⁾)による手法を追加して解析し検討を加えた。難病の4要素を規定する項目を表2に、AHPにおける重要度を表3に、評価の階層構造図を図1に示す。

C. 結果

衛生学・公衆衛生学関係者に対する質問票の第1回目の発送は2000年7月に行なった。発送した部署は182部署で、人数は461名であった。最終的に戻ってきた部署は123部署、人数は385名であった。部署の回収率は69.1%、回答者の回収率は83.5%であった。回答に不備のない278名を今回解析対象とした。

「疾患の稀少性」に関する設問に対する結果を表4に示す。この中で「患者数<医師数<病院数」というのは稀少性を規定する質問項目で一番重要なのは専門病院数で次に重要なのは専門医数で患者数は最も重要でないことと回答したことを示している。稀少性を規定する質問項目の重要性は重要な順に「患者数、専門医数、専門病院数」と回答した者が43.2%と最も多かった。同様に「原因・病態の解明度」に関する設問に対する結果を表5に示す。原因・病態の解明度を規定する質問項目の重要性は重要な順に「発症機序、診断基準、重症度基準」と回答した者が54.3%と最も多かった。「治療法」に関する設問に対する結果を表6に示す。治療法を規定する質問項目の重要性は重要な順に「治療法、5年生存率、入院、通院」と回答した者が34.5%と最も多かった。「生活面への影響」に関する設問に対する結果を表7に示す。生活面への影響を規定する質問項目の重要性は重要な順に「介助必要、社会参加、罹病期間、治療費」と回答した者が29.9%と最も多かった。これらのうち、「疾患の稀少性」と「原因・病態の解明度」について、各回答パターンの最重要な項目に10点、次に重要な項目に5点、3番目に重要な項目に1点を配分し、「治療法」と「生活面への影響」については、最重要な項目に10点、次に重要な項目に6点、3番目に重要な項目に3点、4番目に重要な項目に1点を配分して全ての回答パターンの得点を集計したところ、表8の結果となった。「疾患の稀少性」では、「患者数が少ないこと」が1731点で最も重要で、「専門医数が少ないこと」が1652点で次に重要な項目となり、「原因・病態の解明度」では、「発症機序が解明されて

いないこと」が 2113 点で最も重要で、「診断基準が確立されていないこと」が 1543 点で次に重要な項目となった。「治療法」では、「有効な治療法がないこと」が 2516 点で最も重要で、「5 年生存率が低いこと」が 1282 点で次に重要な項目となり、「生活面への影響」では、「介助の必要な患者が多いこと」が 2210 点で最も重要で、「就労・就学(社会参加)に支障をきたす患者が多いこと」が 1552 点で次に重要な項目となった。

難病の対策研究を進めていく上での難病対策の各要素の相対的重要度を問う質問の回答結果は、各要素への配点として、100 点満点で、稀少性の平均点が(14.5±9.0)点、原因・病態の解明度の平均点が(27.1±11.7)点、治療法の平均点が(28.5±9.0)点、生活面への影響の平均点が(29.9±12.9)点であり、生活面への影響が最も高く、稀少性が最も低い配分となった。

属性の違いによる 4 要素の相対的重要度の比較を表 9 と表 10 に示す。実験系か非実験系かの違いでは、「稀少性」、「治療法の未確立」では配点の違いはなかったが、「原因・病態の解明度」では、実験系の配点が高く、「生活面への影響」では、非実験系の配点が高かった。難病の研究上、診療上の関わりでは、実験系、非実験系で配点異なることはなかった。また、性・年齢による有意な差は認められなかった。

一方、臨床班の班長に対する調査は 2000 年 10 月から 12 月及び、治療対象疾患に追加された疾患については 2001 年 9 月に行ない、回答は 119 疾患すべてにおいて回収できた。臨床班の班長に対する各特定疾患の実状の結果を治療対象疾患、非対象疾患別に表 11 に示す。治療研究対象疾患は 2001 年 4 月現在 46 疾患である。

衛生学・公衆衛生学関係者の質問票の解析結果を臨床班の班長の難病の実状に合わせることで、難病対策上の難病の 119 疾患の評価を行なった。評価のための得点計算法を図 2 に示す。ここで、各疾患毎に臨床班の班長の回答が患者数の回答で、1 の 100 人未満なら 100 点とし、2 の 100 から 1000 人未満なら半分の 50 点とした。患者数

の回答の係数は表 8 の得点を稀少性全体の得点で比例配分したものであり、稀少性の中で患者数の重み付けを 0.39、同じく専門医数の重み付けを 0.37、専門病院数の重み付けを 0.24 とした。稀少性の得点全体にかかる 0.145 の係数は難病の 4 要素への配点のうち稀少性に対する配点の平均値を用いたものである。評価結果の上位 50 疾患を表 12 に示す。また、図 2 を使用して計算した総得点と治療対象疾患の認定年との関係を図 3 に示す。

上記の解析方法に AHP による評価を追加して比較検討した。

1) 衛生学・公衆衛生学関係者の評価

表 13 に「難病対策を進める上で難病の 4 要素の重み付けはどう付けるべきか」への回答結果を示す。この結果から、難病の 4 要素の重み付けは図 4 に示すようになった。一対比較法による稀少性の重要性の評価結果は表 14 に示すようになった。表 3 に示す重要度の定義を用いてこの行列の最大固有値に対する固有ベクトルから求めた各項目の重み付けを表 15 に示す。Consistency Index は一対比較行列の整合性を表すものである。この結果を図 5 に示す。原因不明の評価結果を表 16 に示す。この結果から得られた原因不明の質問項目の重み付けを表 17 に示す。治療法の評価結果を表 18 に示す。この結果から得られた治療法の質問項目の重み付けを表 19 に示す。生活面の評価結果を表 20 に示す。この結果から得られた生活面の質問項目の重み付けを表 21 に示す。以上の衛生学・公衆衛生学関係者による評価を図 6 にまとめた。

2) 臨床班の班長による評価

臨床班班長による難病の実状の回答の評価値を表 22 に示す。これは、回答が難病対策上、最も重要性が高い回答の場合を 1.00 とした場合に中等度の回答の重み付けを 0.35、最も重要性が低い回答の重み付けが 0.19 となることを示している。この結果を図 7 に示す。

3) 評価得点の計算

図7をもとにした評価得点の計算方法を具体的に表23に示す。評価値順の疾患の一覧を表24に示す。評価値の高低と認定の有無の関係を表25に示す。評価値の上位48疾患と下位71疾患で治療対象疾患かどうかは有意な関係ではなかった。治療対象疾患に認定された西暦年と評価値の関係を図8に示す。認定年と評価値の相関係数は有意であった。

4) 周辺疾患の追加

難病の周辺疾患の評価を行なうために、臨床班の班長に周辺疾患の追加評価を依頼した。追加した疾患は表26に示すように、都道府県で医療費を補助している47疾患とその他に臨床班の班長によって追加された5疾患である。都道府県で医療費を補助している47疾患のうち15疾患は評価を依頼した班長によって、疾患単位として評価が困難であると回答されたので、最終的には37疾患を難病の周辺疾患として評価を行なった。評価結果を表27に示す。周辺疾患の評価順位が高いものから低いものまで広く分布した。図9に認定している県の数と総合評価値の関係を示す。認定している県の数と評価値の間には有意な関係は認められなかった。AHPによる評価と最初に解析した方法による総得点の相関係数は0.833($p < 0.001$)で有意に高い値であった。

D. 考察

難病対策は1972年から特定疾患調査研究事業としてスタートし、1999年より厚生科学研究費補助金特定疾患対策研究事業に移行し、2001年には119疾患となっている³⁾。これらの対象疾患のうち、「診断基準が一応確立し、かつ難治度・重症度が高く、患者数が比較的少ないため、公費負担の方法をとらないと原因の究明、治療方法の開発等に困難をきたすおそれのある疾患」を特定疾患治療研究事業の対象疾患として、医療費の自己負担分に対し、国と都道府県から補助がなされて

いる³⁾。しかしながら、最近の医学の発達により、原因の究明や診断・治療法が進んで、もはや「難病」とは呼び難い疾患も出現するようになり、難病対策の全体的な見直しが求められるようになってきた。公費負担についても、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告書では、「現在では、研究の一環としての公費負担という本来の目的よりは、むしろ医療費の自己負担の軽減という経済的な側面が重視されるようになってきており、一定の症例数を確保するために医療費の公費負担制度が導入されたという経緯に配慮すべきである。また、対象疾患の選定方法についても、基準が明確とは言えず、単に年度毎に1疾患ずつ追加していく方法も見直すべきである。」としている⁴⁾。1998年より重症患者を除いて定額による患者負担が導入されることとされたが、新たな疾患認定の方法などの抜本的な改革は行われていない。「難病対策要綱」が策定された当時に1.7万人だった患者数が現在では40万人を越えており、公費負担の対象外の難病や、がん、脳卒中等の難治性の疾患との不公平感の増大も問題となってきた⁵⁾。

そこで、本研究では、この難病対策の見直しに関する評価方法を開発し、今後の難病対策に寄与することを目的とした。評価の方法としては、難病対策を客観的に評価するために、次のように3段階の手順を踏むことにした。1)まず難病という概念を「難病対策要綱」より「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素とし、これらの要素に対しての難病対策上の重要度の評価を衛生学・公衆衛生学関係者に一対比較法で評価してもらうように依頼した。2)次に各難病についての実状の評価を特定疾患対策研究事業対象119疾患の各分科会長(臨床班の班長)に依頼した。3)最後に衛生学・公衆衛生学関係者による難病対策の要素の評価(枠組み)と臨床班の班長による各難病の評価(実情)を考慮して、難病対策上の優先順位を決定した。ここで、難病対策の4要素の評価に衛生学・公衆衛生学関係者を選んだのは、1)臨床でなく、直接難

病患者を治療しない集団であること、2)幅広い医学的視野を持つ集団であること、3)疫学調査に普段から関与する機会が多く、質問票調査に協力してもらえる集団であること、などの理由からである。評価法に一对比較法を採用したのは、論理的矛盾を排し、一人一人では2つの項目のうちどちらがより重要かまでしか分からないが、集団では得点を計算して相対的な順位を求められるためであり、スポーツにおけるリーグ戦で順位を決めることにあたるものである。田村ら⁶⁾は死因リスクの確率認知の構造を調査する際に、一对比較法により日本人一般のがん、脳血管疾患など6つ発生可能性を求めている。談ら⁷⁾や Okamura ら⁸⁾は一对比較法で価値観の多様性を定量的に把握することを試みており、一对比較法は今回のような多様性のある価値判断の評価に適していると思われる。佐藤ら⁹⁾は難病の優先順位を決定する方法として、決定木方式¹⁰⁾を採用している。この方法では、判定の早い段階で下位に枝分かれしてしまうと総合順位が極端に下がってしまう弊害が考えられる。佐藤らはこの欠点を補うために患者、行政、研究者の複数の視点からの評価することを行っている。本研究では一对比較法で質問項目の重要性の順位を求めて、難病対策の総合的な評価を行なうことを試みた。

一方、難病の実状の調査については、各疾患の実状を最もよく把握していると思われる臨床班の班長を選んだ。回収率の高さからもこのような調査に適した集団であると考えられる。

回答者の属性の違いによる評価は「病因・病態の解明度」の配点が実験系の回答者で高く、「生活面への影響」は非実験系で高い結果となった。このことは回答者の専門分野によって何を重視して研究するかの影響と思われる。研究上の関わり、診療上の関わりでは実験系と非実験系で差はなく、年齢、性別による配点の違いの傾向は認められたが、今回の研究では総合的に衛生学・公衆衛生学関係者全員の評価とすることとした。

臨床班の班長の各担当の難病の実状の調査の回収率は100%であり、臨床班の班長も難病対策

の評価についての重要度を十分認識していることが考えられる。各項目の回答については、なるべく回答し易いような質問のカテゴリーを設定していたため、回答不能の項目がいくつかあったものの、殆どの項目で有効な回答を得られた。治療対象疾患は診断基準が確立している疾患から選ばれているため、診断基準が「あり」と回答のあった疾患が非治療対象疾患よりも多かったが、「検討中・策定中」と回答のあった疾患も4疾患あった。他の項目では、治療対象疾患と非対象疾患で有意に回答の分布が異なる項目はなかった。

本研究において、衛生学・公衆衛生学関係者の質問票の解析結果を臨床班の班長の難病の実状に合わせて評価することにより、難病対策上の難病の119疾患の優先順位の評価を行なった。総得点の求め方は「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素ごとに得点を求め、その総和で求めた。各要素の中での質問項目の係数は衛生学・公衆衛生学関係者の評価による得点を比例配分して求めた。一方、臨床班の班長の各質問項目間の重要度には外的な基準がなかったため、各項目への回答が難病対策上最も重要な回答には100点、次に重要な回答には50点を配分することとした。

難病の4要素毎の順位で並び変えた119疾患と総合得点によって並び変えた119疾患の順位を求めたが、各要素毎に見ると、難病の中のどの要素を重視するかによって難病の順位が大きく異なることが明らかになった。このことは、佐藤らの論文⁹⁾でも示されているように、難病に対して、患者、行政、研究者という立場からどの要素を重視するかによって難病の優先順位が大きく異なることが考えられる。総合得点によって並び替えた119疾患の順位を求めた結果では、現在治療対象疾患となっている疾患が上位を占めることはなかった。また、治療対象疾患の認定年と順位との関係は逆相関の関係が認められた。このことは時代とともに、難病対策の優先順位を見直す必要性を示しているものと考えられる。

非治療対象疾患で上位に評価された疾患はがん

ストマン・ストロイラー・ジ・インカ-病、致死性家族性不眠症、進行性多巣性白質脳症、血栓性血小板減少紫斑病、ビタミン D 受容機構異常症等であった。いずれの疾患も重症例が多く、予後不良の疾患であり、早急な対策強化が望まれる。

難病は文字通り難治性の疾患であるが、難病だけが難治性の疾患ではなく、がんを始め未だに難治である疾患は多く存在する。その中で難病の一部の疾患にのみ治療費の補助が行われている理由は単に難治であるばかりでなく、稀少疾患であるために症例数を増やし研究を進めることが本来の目的である。医療の公平の面¹¹⁾からも医学の進歩とともに難病対策の優先度は見直されるべきと思われる。医療政策を評価する方法としては、費用便益分析¹²⁾、費用効用分析¹³⁾などがよく用いられる。しかしながら、難病対策の優先度を決定する方法としては適切とは考えられない。症例数が少ないために、市場規模が小さく、製薬会社などからの研究費、研究者の参入が見込めない等の理由があるために特定疾患治療対象疾患に医療費の補助をしているので、難病対策を単に経済的効率で評価するには限界があると考えられる。

今回、難病の優先順位の評価は AHP(Analytic Hierarchy Process, 階層分析法)を用いた。これは、米国ピッツバーグ大学のサティエー教授が開発した手法で、意志決定のプロセスを階層構造に構築し、各階層における評価を総合判断にまとめるものである。軍事、外交、経営などの分野での意志決定に応用されているもので、今回の難病の優先順位の評価に適しているものと考えられる。

政策評価には、望ましい政策を選択する事前評価と政策によってもたらされた成果を評価する事後評価がある¹⁴⁾。個々の難病の研究成果の評価は特定疾患に関する評価研究班¹⁵⁾で行われているが、多彩な疾患群の研究成果を評価するのはかなりの困難を伴うものと思われる。我々の調査では、評価の枠組みを決めて難病対策とはどうすべきかという面から事前評価を行なうとともに、臨床班の班長からの各疾患の実状を調査することにより簡易的に事後評価を取り入れた。すなわち、

衛生学・公衆衛生学関係者からの難病対策の要素の評価で治療法が解明されていないことが難病対策上重要であると評価されたのは、事前評価にあたり、臨床班の班長が自分の担当疾患の治療法はかなり解明されていると回答した場合に、その疾患の難病対策上の優先順位が低くなるのは、事後評価の考えにあたるものである。もっとも、事後評価については今回の調査だけでは不十分であり、今後とも検討する必要があると考えられる。

評価とは、一般的に言って、形式的な情報、例えば病院の評価であれば、手術件数、来院患者数などで行なう評価は比較的容易である。しかしながら、内容による評価は困難なことが多い。本研究は、難病に関する形式的な評価ではなく、専門家による内容に関する評価である。専門家による評価を行なう際に、一つの集団だけによる評価では評価を行なう立場により結果が恣意的になってしまう危険性がある。本研究では、1つの集団によって難病を構成する要素の重み付けの評価と、もう1つの集団による難病の実状の評価を組み合わせた評価であり、一つの集団による評価の恣意性を排除することを試みたものであり、より客観性が確立されたものであると考える。

今回の研究では衛生学・公衆衛生学関係者から総合的な見地より各要素の重み付けを行い、臨床班の班長に担当の疾患の実状を考慮して総合得点による優先順位付けを行なった¹⁶⁾。これは難病対策の要素の評価者を衛生学・公衆衛生学関係者とした場合にこのような結果となったことを示しているものであり、難病対策の優先順位をこのようにすべきであるとしたものではない。評価者を別の集団にすれば優先順位も当然異なった結果となるものと考えられる。また、使用した調査票は独自に作成したものであるため、予備調査で検討したとは言え、妥当性、再現性にも限界があるものと考えられ、今後、検討の必要がある。臨床班の班長による担当疾患の実状の回答についても、全国疫学調査を行なった疾患もあれば、行っていない疾患もある¹⁷⁻¹⁹⁾などの違いがあり、より客観的なデータの収集も必要であると考えられ

る。

E. 結論

全国の医育機関の衛生学・公衆衛生学関係者を対象とし、難病の「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素の重みづけは100点満点とした場合、それぞれの平均値は14.5、27.1、28.5、29.8点となり、疾患の稀少性が最も低い重みづけとなった。各要素内でのその要素を把握する項目の重要性を一对比較法で判定してもらう方法で評価したところ、「疾患の稀少性」の要素では、「全国の患者数が少ないこと」と、「全国の専門医数が少ないこと」が、「原因・病態の解明度」の要素では、「発症機序が解明されていないこと」と、「診断基準が確立されていないこと」が、「治療法の未確立」の要素では、「有効と考えられる治療法が無いこと」と、「5年生存率が低いこと」が、「生活面への影響」の要素では、「日常生活で介助の必要な患者の割合が高いこと」と、「就労・就学(社会参加)に支障をきたす患者の割合が高いこと」が重要となった。臨床班の班長に対する難病の実状調査にこの結果を合わせることにより、119疾患の難病対策上の優先順位を評価したところ、現在の治療対象疾患が上位を占めることはなく、難病対策を見直す必要があることが示唆された。また難病周辺疾患の評価順位も高いものから低いものまで広く分布した。

F. 文献

- 1) 厚生省保健医療局疾病対策課. 難病対策提要. 平成10年版. 厚健出版, 東京, 1998
- 2) Saaty TL, Vargas LG. Prediction, projection, and forecasting. Massachusetts: Kluwer Academic, 1991
- 3) 厚生統計協会. 国民衛生の動向. 厚生指標 2001;48:150-155
- 4) 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会最終報告書(平成7年)
- 5) 疾病対策研究会監修. 難病対策ガイドブック. 現

代社会保険, 東京, 2000

- 6) 田村誠, 川田智恵子. 死因リスクの確率認知の構造に関する調査研究. 日本公衛誌 1997;44:558-567
- 7) 談小健, 高野泰, 岸野洋久. 階層モデルを用いた嗜好度格差の解析. 計量生物学 2001;21:15-28
- 8) Okamura H, Kiyota M, Hiramatsu K. Quantitative Analysis of Paired Comparison Data Using Bradley-Terry Model with a Normal Distribution. Japanese Journal of Biometrics 2001;21(2):1-14
- 9) 佐藤俊哉, 稲葉裕, 黒沢美智子, 他. 特定疾患治療研究事業対象疾患の選定方法に関する検討. 厚生指標 2000;47:11-17
- 10) Pauker SG, Kassirer JP. Decision analysis. N Engl J Med 1987;316:250-258
- 11) 池上直己, JC キャンベル. 日本の医療, 中央公論社, 東京, 1996
- 12) Mishan EJ. Cost-benefit analysis Fourth edition. New York: Routledge, 1988
- 13) Weinstein MC, Stason WB. Foundations of cost-effectiveness analysis for health and medical practices. New Engl J Med 1977;296:716-721
- 14) 山谷清志. 政策評価の理論とその展開. 晃洋書房, 京都, 1997
- 15) 清野裕. 特定疾患に関する評価研究班平成12年度研究報告書
- 16) 杉田稔. 特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究班平成12年度総括研究報告書
- 17) 大野良之. 特定疾患治療研究事業未対象疾患の疫学像を把握するための調査研究班平成11年度研究報告書
- 18) Ohno Y, Kawamura T, Tamakoshi A, et al. Epidemiology of intractable diseases in Japan. J Epidemiol. 1996;6:s99-s109
- 19) Ohno Y, Kawamura T, Tamakoshi A, et al. Epidemiology of diseases of unknown etiology, Specified as "Intractable Diseases". J Epidemiol. 1996;6:s87-s93

G. 研究発表

- | | |
|--|-----------------|
| 1. 論文発表
伊津野孝、杉田稔、他：特定疾患
評価の試み. 医療 56:114-12-,2002 | 2. 実用新案登録
なし |
| 2. 学会発表
伊津野孝、杉田稔、他：難病の評価に関する
研究. 第 60 回日本公衆衛生学会、高松、
2001.10 | 3. その他
なし |

H.知的所有権の取得状況

1. 特許取得
なし

表 1 対象と質問内容

対象：難病の臨床班の班長

質問内容：担当疾患の実状調査

回答数： 119 疾患

対象：全国の医学部の衛生・公衆衛生関係者(有給助手以上)

質問内容：難病を規定する要素の重み付け

回答数： 278 人

表 2 難病の 4 要素を規定する項目

要素	項目
稀少性	患者数
	専門医数
	専門病院数
原因・病態の解明度	発症機序の解明度
	診断基準の確立

治療法の未確立	重症度基準の確立 5年生存率の低さ 治療法がないこと 通院の頻度が高いこと 入院の割合が高いこと
生活面への影響	介助の必要性が高いこと 罹病期間が長いこと 治療費が高いこと 社会参加に支障があること

表3 重要度の尺度

比較した 重要度の尺度	定義	回答%
1	同じくらい重要 (equal importance)	50-59.9
3	やや重要 (weak importance)	60-69.9
5	かなり重要 (strong importance)	70-79.9
7	非常に重要 (very strong importance)	80-89.9
9	きわめて重要 (absolute importance)	90-100
重要でないときは尺度の逆数を使う		

表 4 稀少性の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 患者数<医師数<病院数	39	14.0
2 病院数<患者数<医師数	27	9.7
3 患者数<病院数<医師数	57	20.5
4 医師数<病院数<患者数	25	9.0
5 医師数<患者数<病院数	10	3.6
6 病院数<医師数<患者数	120	43.2
計	278	100.0

表 5 原因・病態の解明度の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 発症機序<診断基準<重症度基準	19	6.8
2 重症度基準<発症機序<診断基準	40	14.4
3 発症機序<重症度基準<診断基準	39	14.0
4 診断基準<重症度基準<発症機序	26	9.4
5 診断基準<発症機序<重症度基準	3	1.1
6 重症度基準<診断基準<発症機序	151	54.3
計	278	100.0

表 6 治療法の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 5年生存率<治療法<通院<入院	4	1.4
2 5年生存率<治療法<入院<通院	2	0.7
3 5年生存率<入院<治療法<通院	2	0.7
4 通院<入院<5年生存率<治療法	96	34.5
5 5年生存率<通院<治療法<入院	4	1.4
6 5年生存率<通院<入院<治療法	36	12.9
7 通院<5年生存率<治療法<入院	4	1.4
8 通院<5年生存率<入院<治療法	34	12.2
9 入院<5年生存率<通院<治療法	3	1.1
10 入院<通院<5年生存率<治療法	24	8.6
11 5年生存率<入院<通院<治療法	32	11.5
12 治療法<通院<入院<5年生存率	4	1.4
13 入院<治療法<通院<5年生存率	1	0.4
14 治療法<5年生存率<入院<通院	1	0.4
15 通院<治療法<入院<5年生存率	1	0.4
16 通院<入院<治療法<5年生存率	28	10.1
17 通院<治療法<5年生存率<入院	1	0.4
18 入院<通院<治療法<5年生存率	1	0.4
計	278	100.0

表 7 生活面への影響の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 介助必要<罹病期間<治療費<社会参加	5	1.8
2 社会参加<介助必要<罹病期間<治療費	5	1.8
3 介助必要<社会参加<罹病期間<治療費	2	0.7
4 治療費<社会参加<介助必要<罹病期間	9	3.2
5 介助必要<治療費<罹病期間<社会参加	5	1.8
6 介助必要<治療費<社会参加<罹病期間	2	0.7
7 治療費<介助必要<罹病期間<社会参加	3	1.1
8 治療費<介助必要<社会参加<罹病期間	8	2.9
9 社会参加<介助必要<治療費<罹病期間	3	1.1
10 社会参加<治療費<介助必要<罹病期間	2	0.7
11 介助必要<社会参加<治療費<罹病期間	4	1.4
12 罹病期間<治療費<社会参加<介助必要	55	19.8
13 罹病期間<介助必要<治療費<社会参加	2	0.7
14 罹病期間<治療費<社会参加<介助必要	6	2.2
15 罹病期間<社会参加<介助必要<治療費	12	4.3
16 社会参加<罹病期間<介助必要<治療費	5	1.8
17 罹病期間<社会参加<治療費<介助必要	5	1.8
18 社会参加<罹病期間<治療費<介助必要	8	2.9
19 罹病期間<介助必要<社会参加<治療費	3	1.1
20 治療費<罹病期間<社会参加<介助必要	83	29.9
21 治療費<社会参加<罹病期間<介助必要	16	5.8
22 治療費<罹病期間<介助必要<社会参加	26	9.4
23 社会参加<治療費<罹病期間<介助必要	9	3.2
計	278	100.0