

20010857

厚生科学研究研究費補助金  
特定疾患対策研究事業  
特定疾患に関する評価研究班  
平成13年度 総括・分担研究報告書  
平成14年3月

主任研究者 清野 裕

## 目次

I. 総括研究報告	1
	主任研究者 清野 裕
II. 平成 13 年度事業報告	
1. 第 1 回総会プログラム	4
2. 第 2 回総会プログラム	5
3. 第 1 回特定疾患調査研究事業評価に関する外部委員会	7
III. 分担研究報告	
1. 特定疾患対策研究事業の再評価について	10
	京都大学大学院医学研究科病態代謝栄養学講座 清野 裕
2. 特定疾患治療研究事業の再評価について	14
	聖マリアンナ医科大学リウマチ・膠原病・アレルギー内科 尾崎 承一
2. 特定疾患診断のための指定医制度について	19
	東亜大学工学部生命科学工学科 三木 知博
3. 特定疾患受給者数の将来予測について	23
	国立医療・病院管理研究所 長谷川敏彦
4. 特定疾患における医療・福祉的評価	
——一般学生の特定疾患への意識調査——	45
	自治医科大学心理学 高野 謙二
5. ラット神経幹細胞を用いた同系間移植に関する研究	52
	聖マリアンナ医科大学脳神経外科学 関野 宏明
(付) 特定疾患対策研究事業および治療研究事業に関するアンケート調査	
コメント集	54
IV. 研究成果の刊行に関する一覧表	87
V. 平成 13 年度班員名簿	90

# [ I ] 総括研究報告

厚生科学研究費補助金（特定疾患対策研究事業）  
総括研究報告書

主任研究者 清野 裕 京都大学大学院医学研究科病態代謝栄養学講座

研究要旨

今年度は特定疾患対策研究事業・特定疾患治療研究事業の再評価のため、研究事業の見直しを行った。特定疾患対策研究事業の研究班の統廃合とともに新たに14の研究班の提案を行った。治療研究事業の対象疾患の見直しも行い、治療法の進歩や患者の軽症化などの理由により治療研究事業での継続が不要と考えられた疾患をあげる一方で、疾患の病態の解明、診断の確立、治療法開発への期待を理由として10疾患を新たに対象疾患として取り上げること提案した。さらに侵襲臓器や重症度に基づいて治療研究事業を推進するために指定医制度の検討も行った。研究の科学的評価については、これまでの評価結果を各研究班にフィードバックさせることの重要性や評価結果やその評価結果に至った理由（コメント）の開示が重要と考えられた。

分担研究者

尾崎 承一

聖マリアンナ医科大学

リウマチ・膠原病・アレルギー内科

教授

三木知博

東亜大学工学部 生命科学科 教授

長谷川敏彦

国立医療・病院管理研究所

医療政策研究部 部長

高野謙二

自治医科大学 心理学 助教授

関野宏明

聖マリアンナ医科大学 脳神経外科学

教授

A. 研究目標

最終年度である平成13年度はこれまで当研究班で行ってきた評価研究の結果を踏まえ、特定疾患対策研究事業全体の見直しを含めた再評価を行った。疾患の定義、診断基準の策定、正確な診断の確立、発症率、有病率の掌握、病態の解明、治療ガイドラインの策定を含んだ研究が行われているかを評価の指標とし、この観点から各分野の専門家とともに特定疾患対策研究事業および治療研究事業の見直しを行った。

B. 研究方法

1) 特定疾患対策研究事業および特定疾患治療研究事業の再評価

特定疾患対策研究事業・特定疾患治療研究事業の再評価のため各分野の専門家からなる外部委員会を設置し、研究事業の見直しおよび指定医制度に関する検討を行った。

2) 科学的評価

当班の分担研究者が実際に各研究班の班会議に出席し、評価の現状を解析した。そこで得られた結果を元に、平成11年度特定疾患対策研究事業に対する評価票に関する資料作成を厚生省に提言した。平成12年度には中間事後評価委員会での資料作成が採用されたため、平成13年度は主任研究者が作成したこの資料と班会議出席得られた成果報告を元に

評価小委員が作成した評価票の分析を行い、また評価小委員に評価票に関するアンケート調査を行い、資料の有用性と評価の問題点を解析した。

### 3) 社会福祉的評価

一般の大学生を対象に平成12年度に医学生に対して行ったのと同様な特定疾患の認知度、告知に対する意識調査などに関するアンケート調査を行った。

### 4) 難病患者の将来予測

特定疾患受給者証交付件数、増加数を用いて、疾患別将来受給者数の推定を行った。

### 5) 特定疾患への再生医療、遺伝子治療の導入

1)に関連して新たな特定疾患研究事業の研究班設置を提言するため、実験的基礎的検討を行った。

## C. 研究結果および考察

### 1) 特定疾患対策研究事業および特定疾患治療研究事業の再評価

特定疾患対策研究事業全体の見直しを含めた再評価を行った。特定疾患対策研究事業においては臨床調査研究班のうち3班はその役割を終えた、あるいは他の研究事業での研究が適切であると考えられた。また近接した研究対象のため6班の合併ないし改編を提言した。横断的研究班のうち4研究班はそのほとんどが基礎的研究、動物実験を主体としており、特定疾患対策研究事業以外の研究費での推進が適当と考えられ、5研究班が統合ないし何らかの改編が必要と考えられた。さらに新たに14の研究班の提案を行った。治療研究事業の対象疾患のうち4疾患は治療法の進歩や患者の軽症化などの理由により治療研究事業での継続が不要と考えられた。さらに4疾患が重症例に限定し対象疾患とすることが提案された。疾患の病態の解明、診断の確立、治療法開発への期待を理由として10疾患を新たに対象疾患として取り上げることを提案した。

### 2) 指定医制度に関する検討：侵襲臓器や重症度に基づいて

治療研究事業を推進するために指定医制度の検討を行った。特定疾患患者の診断と評価を遂行する「指定医」を疾患毎に各地域に任命し、診断・侵襲臓器・重症度を統一的な一定のレベルで評価していくことが必要であるが、この制度を実施するには患者サイドの負担の増加を懸念する声もあり、また指定医の選択方法や地域による専門医の偏りなどの問題点も指摘された。重症度分類や薬物治療の必要でない患者の把握などに指定医の存在は必要と考えられたが、実施にあたってはさらに検討を重ねる必要がある。

### 3) 科学的評価

評価小委員による評価は、研究班に求められている成果が十分に得られているのかを検証するとともに、進むべき方向性を示唆するものとして利用されるべきである。そのために評価小委員が作成した評価票の分析を当研究班で行った。これまで評価結果が研究班にフィードバックされることはなかったが、平成13年度には初年度および中間年度の評価票の分析を当研究班で実施し、厚生労働省を介して、各研究班の評価結果を当研究班に還元する試みも実施した。さらに評価票のコメントを充実させることが評価結果を有効に活用するためにも重要である。また評価小委員に対するアンケート調査を実施し、評価の現場からの声を直接聞くことで、評価の実態の把握や評価体制の問題点の解析を行った。評価小委員制度は平成12年度で終了したが、このアンケートの結果は今後の評価体制の改善に役立つものと考えられる。

### 4) 難病患者の将来予測

特定疾患受給者証交付件数、増加数を用いて、疾患別将来受給者数の推定を行った。総受給者数の将来予測は、2005年には約60万人、2010年には約80万人、2015年には約100万人に達することが予測された(2000年47万人)。受給者数の多い疾病ではすべて増加のトレンドを示していた。SLE、ベーチェットでは将来受給者増加はするものの、その伸びに鈍化がみられたが、潰瘍性大腸炎、クローンなど多くの疾病では、さらなる受給者の増加が予測された。しかし、この30年間に診断基準が変更になった疾患や新たに追加になった対象疾患もあり、慎重に解析をすすめる必要がある。特定疾患受給者数は、疾病の疫学的推移のみならず、政策的、社会的要因が大きく関与する。現在の制度、運営が今後とも維持されるとするならば、将来的な受給者数は増大の一途をたどり、国家のさらなる負担となることが予測される。このため①給付対象疾患の慎重な選定、②受給対象者の基準の慎重な設定、等の早急な対策がのぞまれる。

### 5) 社会福祉的評価

難病への知識は一般大学生と医学部1年生との間には差はなかったが、難病研究への興味は医学部1年生の方が強かった。本人への告知については自分が病気である場合、一般学生、医学部1年生、医学部6年生が最も積極的であり、一般大学生は医学部1年生より消極的であった。本人への告知は家族が病気の場合には違いはなく、約1/3だけが賛成であった。告知をすみやかにすべきという意見は、病人が自分であろうと家族であろうと、医学生よりも一般大学生のほうが多く、告知する側とされる側の立場の違いが現れた。今後対象者を増やし、医学教育の有り様、医学生としての適正などについて検討す

る必要がある。

- 6) 特定疾患への再生医学、遺伝子治療の導入  
再生医学の分野を将来は特定疾患にも拡大するべく、特定疾患における再生医学の基礎的検討を行った。この結果得た知見は、今後特定疾患に広く応用可能なものであり、特定疾患対策研究事業の再評価に生かし、1) において再生医療を含んだ新たな研究事業の必要性について提言を行った。

#### D.結論

特定疾患対策研究事業の推進のため、現行の評価体制の評価および事業全体の見直しの再評価を実施し、特定疾患対策研究事業における新たな提言を行った。

## [II] 平成 13 年度事業報告

厚生労働省 特定疾患に関する評価研究班 第1回総会プログラム

平成13年7月23日 17:00~19:00

都市センターホテル 6階602号室

1. 厚生労働省健康局疾病対策課 挨拶

2. 特定疾患に関する評価研究班の今年度研究の進め方

主任研究者 清野裕

3. 平成13年度研究計画

分担研究者



# 厚生労働省特定疾患対策研究事業 特定疾患に関する評価研究班

平成 13 年度 第 2 回総会プログラム

日時：平成 14 年 1 月 18 日（金） 15 時～16 時 30 分

場所：都市センターホテル 7 階 702 会議室

東京都千代田区平河町 2-4-1

TEL：03-3265-8211（代）

（案内図は裏表紙）

厚生労働省 特定疾患対策研究事業  
特定疾患に関する評価研究班  
主任研究者 清野 裕  
（京都大学大学院医学研究科病態代謝栄養学）

事務局 神奈川県川崎市宮前区菅生 2-16-1  
聖マリアンナ医科大学  
リウマチ・膠原病・アレルギー内科  
TEL:044-977-8111 (ext.4108)  
FAX:044-977-7861

## プログラム

1. 主任研究者 開会の挨拶 15:00~15:05
2. 厚生労働省 疾病対策課 挨拶 15:05~15:15
3. 特定疾患対策研究事業見直し評価について  
-特定疾患調査研究事業評価に関する  
外部委員会について- 15:15~15:30  
京都大学大学院医学研究科 病態代謝栄養学  
清野 裕
4. 分担研究者の今年度研究成果について（自由討論）  
15:30~16:30

## 第1回

### 特定疾患調査研究事業評価に関する外部委員会

日時：平成13年11月23日（金） 10時～17時

場所：都市センターホテル 7階 704会議室

東京都千代田区平河町2-4-1

TEL：03-3265-8211（代）

（案内図は裏表紙）

厚生労働省 特定疾患対策研究事業  
特定疾患に関する評価研究班  
主任研究者 清野 裕  
（京都大学大学院医学研究科病態代謝栄養学）

事務局 神奈川県川崎市宮前区菅生2-16-1  
聖マリアンナ医科大学  
リウマチ・膠原病・アレルギー内科  
TEL:044-977-8111 (ext.4108)  
FAX:044-977-7861

## プログラム

1. 主任研究者 開会の挨拶 10:00~10:10
2. 厚生労働省 疾病対策課 挨拶 10:10~10:30
3. 特定疾患対策研究班からのアンケート集計結果  
について 10:30~11:40

東亜大学工学部 生命科学工学科 三木 知博

4. 特定疾患対策研究事業見直しの評価方法について  
11:40~12:00

聖マリアンナ医科大学

リウマチ・膠原病・アレルギー内科 尾崎 承一

昼食 12:00~13:00

5. 特定疾患対策研究事業見直し評価について  
13:00~13:15

京都大学大学院医学研究科 病態代謝栄養学

清野 裕

6. 特定疾患対策研究事業見直し評価分科会  
13:15~17:00

(Coffee Break 15:00~)

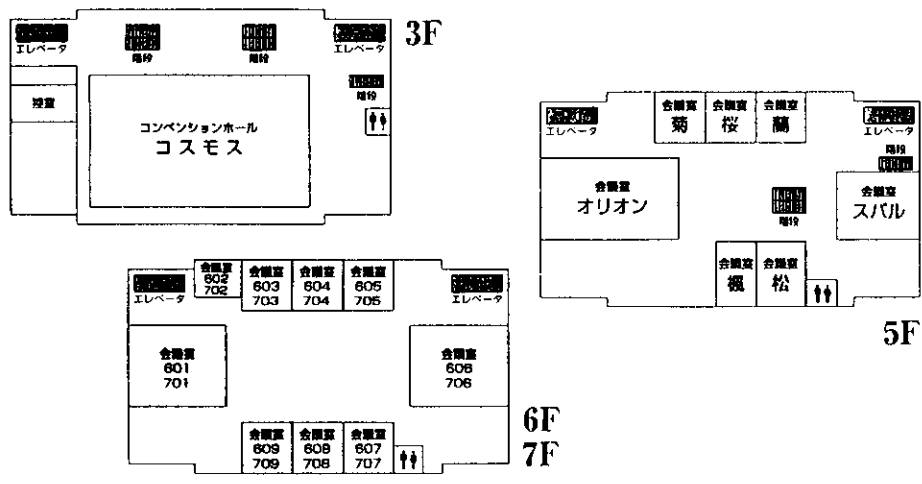
# 都市センターホテル御案内図

交通：地下鉄永田町駅（南北線、有楽町線、半蔵門線）下車徒歩4分

地下鉄赤坂見附駅（丸の内線、銀座線）下車徒歩8分



## 会議室平面図



## [III] 分担研究報告

# 厚生科学研究費補助金（特定疾患対策研究事業）

## 研究報告書

### 特定疾患対策研究事業の再評価について

主任研究者 清野 裕 京都大学大学院医学研究科病態代謝栄養学講座

#### 研究要旨

特定疾患対策研究事業は厚生科学研究事業により実施されるものであり、難病対策として開始されたものである。難病に罹患した患者のための「公費負担」のみならず、患者の治療向上に役立つ事業活動でなければならない。したがって本研究事業は疫学、臨床研究が主体となるべきである。本研究事業では、疾患の定義、診断基準の策定、正確な診断方法の確立、発症率、有病率の掌握、病態の解明、治療ガイドラインの策定が、含まれるべきで、この主旨にそって現行の特定疾患対策研究の評価を行うべきと考える。平成13年度はこれまで当研究班で行ってきた評価研究の結果を踏まえ、特定疾患対策研究事業全体の見直しを含めた再評価を行った。

#### A. 研究目標

特定疾患対策研究事業は原因不明、治療方法が未確立であり、かつ後遺症を残すおそれが少なくない疾患のうち、希少性等を有するために全国規模で研究を行わなければ原因の究明や治療方法の確立が進まない特定疾患を対象として、臓器別、疾患別に特定疾患医療に役立つ研究開発を進めるとともに、広く横断的、基盤的に特定疾患医療に役立つ研究開発や画期的な治療方法や患者の予後や生活の質の改善方法の研究開発を目的とし、現在118疾患を対象にこの研究事業は行なわれている。本研究事業は30年余を経過し、病態解明の進展により、治療法が確立された疾患がある一方で、特定疾患研究の対象外になっている希少疾患もある。最終年度である平成13年度はこれまで当研究班で行ってきた評価研究の結果を踏まえ、特定疾患対策研究事業全体の見直しを含めた再評価を行った。各分野の専門家とともに特定疾患対策研究事業の見直しを行った。

#### B. 研究方法

##### 1) 特定疾患対策研究事業の再評価

特定疾患対策研究事業の再評価のため各分野の専門家からなる外部委員会を設置し、研究事業の見直しおよび指定医制度に関する検討を行った。

##### 2) 科学的評価

当班の分担研究者が実際に各研究班の班会議に出席し、評価の現状を解析した。そこで得られた結果を元に、平成11年度特定疾患対策研究事業に対する評価票に関する資料作成を厚生省に提言した。平成

12年度には中間事後評価委員会でこの資料作成が採用されたため、平成13年度は主任研究者が作成したこの資料と班会議出席得られた成果報告を元に評価小委員が作成した評価票の分析を行い、また評価小委員に評価票に関するアンケート調査を行い、資料の有用性と評価の問題点を解析した。

#### C. 研究結果および考察

##### 1) 特定疾患対策研究事業の再評価

本研究事業は厚生科学研究事業により実施されるものであり、難病対策として開始されたものである。難病に罹患した患者のための「公費負担」のみならず、患者の治療向上に役立つ事業活動でなければならない。したがって本研究事業は疫学、臨床研究が主体となるべきである。一部に基礎的研究、動物実験が含まれることはやむを得ないが、これを研究の主体とすることは目的に合致しない。他の研究事業とは厳に一線を画す必要がある。

したがって本研究事業では

- ① 疾患の定義
- ② 診断基準の策定
- ③ 正確な診断方法の確立
- ④ 発症率、有病率の掌握
- ⑤ 病態の解明
- ⑥ 治療ガイドラインの策定

が、含まれるべきで、この主旨にそって現行の特定疾患対策研究の評価を行うべきと考える。

この観点から各分野の専門家からなる外部委員会を設置し、特定疾患対策研究事業全体の見直しを含め

た再評価を行った。特定疾患対策研究事業においては臨床調査研究班のうち3班はその役割を終えた、あるいは他の研究事業での研究が適切であると考えられた。また近接した研究対象のため6班の合併ないし改編を提言した。横断的研究班のうち4研究班はそのほとんどが基礎的研究、動物実験を主体としており、特定疾患対策研究事業以外の研究費での推進が適当と考えら、さらに5研究班が統合ないし何らかの改編が必要と考えられた。今回新たに14の研究班の提案を行った(表1)。

## 2) 科学的評価

評価小委員による評価は、研究班に求められている成果が十分に得られているのかを検証するとともに、進むべき方向性を示唆するものとして利用されるべきである。そのために評価小委員が作成した評価票の分析を当研究班で行った。これまで評価結果が研究班にフィードバックされることはなかったが、平成13年度には初年度および中間年度の評価票の分析を当研究班で実施し、厚生労働省を介して、各研究班の評価結果を当該研究班に還元する試みも実施した。さらに評価票のコメントを充実させることが評価結果を有効に活用するためにも重要である。

これまでの評価票の問題点を述べる。

第1に、現行評価票は特定疾患対策研究事業が、臨床調査研究部門・横断的基礎研究部門・重点研究部門と明確に目的の異なる3つの部門に分けられているにもかかわらず、いずれの部門の評価票も、その内容・形式はほとんど同一である。様々な目的を持った部門ごとに客観的に評価するには、各々の部門別によりきめの細かい評価内容が求められるといえる。

第2に、評価票の内容に目を転じてみると質問項目に班の存続にかかわるようなものから、他班との協力関係についてや若手研究者の育成といった研究とは直接関係のないものまで、その内容にも軽重がかなり認められる。また、従来の評価材料である班会議(出席できない場合はプログラム・抄録集)および研究計画書によってのみでは、評価が極めて困難な評価項目もある。

第3に評価は、1から5もしくは1, 3, 4と数値で表し、班長の継続は可、不可で行う。そして、1, 5と班長の継続不可の場合に、必ずコメントを記入することとなっている。しかしながら2は劣っているという評価であり、評価小委員の中には総合評価が2であっても班長の継続を可とするものがあつた。この様な場合、劣っている研究内容を改善して継続するのでなければ研究費の浪費ともなりかねず、単に点数評価だけで済ませられない。

第4に、評価制度の根幹にもかかわることである

が、評価小委員の評価が、その後の班の方向性や時には存続にどのように取り入れられるかということも重要な課題である。特に今日情報開示の必要性が叫ばれる中で適切な方法での評価結果の開示は、特定疾患の各研究班にとっても参考になると考えられる。現状では類似疾患の数研究班を、評価小委員が兼務していることも多く、それら班が同一日時に全く異なった場所で班会議を開催し、物理的に評価小委員が出席できない場合も少なからずあつた。厚生科学研究であり、患者ひいては国民にその成果を還元するべき研究であることから、適切な評価を行い、研究班の方向性の確認と修正、ときには廃止をも視野に入れた評価制度を確立する必要があると言える。

以上のことを鑑み、評価研究班では、まず適切な評価を行うために従来の評価材料だけでは十分でないと考え、平成12年度より「特定疾患対策研究事業に関する資料」を各主任研究者が記載し、評価小委員に提出して評価の参考としてもらうことを厚生労働省に提言し了承を得、実施した。すなわち、平成12年度は評価を班会議、評価票に関する資料、研究計画書によりおこなうこととなった。主任研究者の中には趣旨が十分理解されず、評価小委員が利用できないケースもあつたが、ほとんどの班において主任研究者により記載された資料が評価小委員に利用された。特に研究計画書に基づいてなされた研究が、どの程度達成されたかを主任研究者が自ら判断することも含め、従来評価が難しいとされていた項目にも判断材料が提供されることとなった。

しかしながら、はじめにも述べたが現行の評価票は、目的の異なる3部門についてはほぼ同じ内容の項目を評価対象としている。いうまでもないことであるが、特定疾患の各研究班は厚生科学研究費を用いて、稀少ではあるが難治性疾患に対して国民にその研究成果を還元しなくてはならない。したがって評価研究班の役割は、各研究班の研究が、更なる後押しを受けたり、時には軌道修正をするためにその研究成果を正しく評価できうる環境を整備することを重要な課題としており、そのために評価票の有用性についても、十分な吟味が必要である。

特定疾患に関する評価班は、これらのことを踏まえて、評価の現場からの声を直接聞くために、中間評価が実施された平成13年3月に、全評価小委員に、アンケート調査を実施した。ここにその趣旨とアンケート内容について掲載する(別添1, 2)。

このアンケート調査を元に、評価の実態の把握や評価体制の問題点の解析を行った。(詳細は分担研究者尾崎、三木による研究報告を参照。アンケートコメントについても別途掲載する。)評価小委員制度は平成12年度で終了したが、このアンケートの結果は今後の



評価体制の改善に役立つものと考えられる。多忙を極め評価小委員を辞したいという希望もある中、71名の回答が得られたことにこの場を借りて深謝したい。

#### D. 結論

特定疾患対策研究事業の推進のため、現行の評価体制の評価および事業全体の見直しの再評価を実施し、特定疾患対策研究事業における新たな提言を行った。

#### E. 健康危機情報

特記すべきことなし。

#### F. 研究発表

なし

#### G. 知的財産権の出願・登録状況

なし

表1 新しく提案された14の研究班

---

血液系疾患研究	血液疾患登録システムの構築に関する研究班
免疫系疾患研究	原発性（一次性）抗リン脂質抗体症候群に関する研究班
内分泌・代謝疾患研究	若年発症1型糖尿病に関する調査研究班
聴覚・平衡機能系疾患研究	心因性めまいに関する研究班 良性発作性頭位めまい症に関する研究班 嗅覚・味覚障害に関する研究班
神経・筋疾患研究	筋萎縮性側索硬化症の診断と治療に関する研究班 先天性脳・神経疾患の分子生物学的メカニズム 解明と治療法開発に関する研究班
消化器系疾患研究	再生医学応用による難治性肝疾患の治療に関する研究班
骨・関節系疾患研究	超高度骨粗鬆症の病態解析と治療法の開発に関する研究班 特発性多発性椎間板変性症の病因解明と治療法の開発に 関する研究班
腎・泌尿器系疾患研究	腎疾患の治療法の標準化に関する研究班 進行性腎障害の進展抑制および治療に関する 研究班
循環器疾患研究	Brugada 症候群に関する研究班

---

厚生科学研究費補助金（特定疾患対策研究事業）  
研究報告書

特定疾患治療研究事業の再評価について

分担研究者 尾崎 承一 聖マリアンナ医科大学 リウマチ・膠原病・アレルギー内科

研究要旨

特定疾患治療研究事業の再評価を行った。治療研究事業の対象疾患のうち4疾患は治療法の進歩や患者の軽症化などの理由により治療研究事業での継続が不要と考えられた。さらに4疾患が重症例に限定し対象疾患とすることや他の疾患を網羅した対象疾患名に変更することが提案された。疾患の病態の解明、診断の確立、治療法開発への期待を理由として10疾患を新たに対象疾患として取り上げることが提案された。特定疾患対策研究事業に対する科学的評価については、評価結果を実際の研究に生かしていくためには、今後評価におけるコメントの充実や評価結果の開示が必要であると考えられた。

A. 研究目標

特定疾患治療研究事業は原因不明、治療方法が未確立であり、かつ後遺症を残すおそれが少なくない疾患のうち、希少性等を有するために全国規模で研究を行わなければ原因の究明や治療方法の確立が進まない特定疾患を対象としている。特定疾患対策研究事業が開始され30年余を経過し、特定疾患対策研究事業全体の見直しの必要性が生じている。46の対象疾患の中には病態解明が進み、治療法が開発された疾患がある一方で、未だ原因不明の難治性病態を呈する疾患もある。本年度は各分野の専門家とともに特定疾患治療研究事業の見直しを行った。

また当研究班では科学的評価方法の確立を目標に現行の評価の実態の解析を行ってきた。今年度は平成12年度まで行われてきた評価小委員による評価の問題点を明らかにする目的で、評価票に関するアンケート調査を実施し、その解析を行った。

B. 研究方法

1) 特定疾患治療研究事業の再評価

特定疾患治療研究事業の再評価のため各分野の専門家からなる外部委員会を設置し、研究事業の見直しに関する検討を行った。

2) 科学的評価

評価小委員に評価票に関するアンケート調査を行い、評価の問題点を解析した。

C. 研究成果

1) 特定疾患治療研究事業の再評価

外部委員会を開催し、現行の対象疾患の見直しを行った。その結果、継続が必要と回答された疾患は38疾患であった。

継続が不要と回答されたものが4疾患あり、その理由は多くの軽症例が含まれており、重篤例に限定した症例のみを対象疾患にすべきとするものや、これまでの研究成果が大きく、治療法も確立されたためとする疾患が2疾患あった。

継続にあたり、条件付けをされた疾患が4疾患あり、その理由は重症度基準を設け、研究対象を絞り込む必要があるとするものや、診断根拠を明確にすべきで、他の疾患が含まれている可能性を指摘された疾患、他の疾患を網羅した対象疾患名に変更することが提案された疾患があった。

また新たに10疾患の提案がなされた。（表1）これらはいずれも対象疾患としてとりあげること、疾患の病態の解明、診断の確立、治療法開発への期待を理由として掲げていた。

2) 科学的評価

特定疾患対策研究事業はこれまで、評価小委員が直接班会議に出席して得られた情報を元に（あるいは書面審査により）評価票を作成し、この評価票の集計と主任研究者のヒアリングにより中間事後評価委員会で各研究班の評価が行われてきた。平成12年度でこの評価小委員制度は廃止となったが、実際に班会議に出席し、評価を実施してきた評価小委員にこれまでの評価体制についてのアンケート調査を実施し、主任研究者清野および分担研究者三木とともに問題点の解析を行った。

アンケート調査集計結果を示す。

#### A. 現行評価票について

・ 現行評価票は、各特定疾患研究班の研究体制やその他に生かされていると思われませんか。

- ・ 生かされている。 77%
- ・ 生かされていない。 13%
- ・ 不明・その他 10%

②評価票は大項目として「研究企画」、「研究結果」、「連携状況」、「その他」、「評価結果」となっておりますが、分類の仕方はこれで良いでしょうか。

- ・ よい。 90%
- ・ 多い。 6%

減らすべき項目はすべて「連携状況」について

- ・ 少ない。 4%

③評価項目は 11～13 項目に分類されておりますが、今後評価の開示を行っていく際に、現行評価項目は抽象的であり、点数評価のみでコメントの記載がない場合や、特に評価の低い場合、どのように改善すべきかが分かりにくいと思われませんか。これについてどのようにお考えでしょうか。

・ 項目はそのままよいが、コメントを充実させる。  
65%

- ・ やむをえない。 30%
- ・ 不明 4%
- ・ 項目を細分化する。 1%

④現行評価票で特に評価しにくい項目があればお書き下さい。(複数回答)

- ・ 連携状況について 39%
- ・ 若手研究者の育成 12%
- ・ 難病対策に対する貢献度 9%

⑤現行評価票で評価の必要がないと思われる項目があればお書き下さい。

- ・ 連携状況について 6%
- ・ 若手研究者の育成 4%
- ・ 研究対象の疾患について 3%

(これは行政が決める項目)

⑥現行では評価が 5 (極めて優れている)、もしくは 1 (極めて劣っている) と班長の継続を不可とした場合、必ずコメントを記入することになっていますが、評価の 2 も「劣っている」となっており、今後評価を開示していく際にはコメントが必要ではないでしょうか。

- ・ 評価の 5, 2, 1 と班長の継続不可にはコメントをつける。 67%

- ・ 現行のままでよい。 28%
- ・ すべてにコメントをつける。 4%

⑦評価項目については、1～5で点数評価しておりますが、項目別に軽重をつけるべきとのご意見もあります。

- ・ 今のままでよい。 86%
- ・ 軽重をつけるべき。 14%

点数を大きくする項目は何がよいでしょうか。

- 総合評価 9%
- 研究評価 9%

⑧一つの班の評価小委員の中で、評価が大きく異なっている場合があり、開示されても、主任研究者が、改善をするのも困難な場合があります。

こういう場合、

- ・ 評価小委員がまとめる。 60%
- ・ 調整せずにそのままの評価を用いる。 35%
- ・ 4人のうちかけ離れたものを除く。 5%

⑨評価小委員の専門性について、該当班についてすべての委員が、その専門家でなくともよいという意見もあります。

- ・ むしろ 1名は専門外の識者が入っている方がよい。 77%
- ・ すべてがその疾患の専門家。 23%

#### B. 班会議の日程について

評価小委員は、複数班を兼任しておられることも多く、その班が同一日に異地域で班会議を開催することは、評価小委員の出席が物理的に不可能となります。

この状況について、

- ・ 別日程でやってもよいが、主任研究者が評価小委員と日程調整を行う。 68%
- ・ 評価小委員が兼務しているときは合同で行う。 23%

その他 9%

ヒアリング  
兼務解消

#### C. 評価小委員の位置づけ

班会議の日程は全く評価小委員の都合も考慮せずに決定されており、評価小委員を軽視しているとのご意見もありましたが、これも評価小委員の位置づけが明らかでないためともいわれております。これを改善するためにどのような方法をとるのがよいでしょうか。

- ・ 評価が一致して一定以下になった場合は途中年度でも見直しを行えるなど権限を強化する。 58%