

- ・ 特定疾患に関する評価研究班の分担研究者とする。  
12%
- ・ その他  
評価小委員の権限明文化 10%

#### D. 評価の開示

従来、明らかな形で評価は開示されておりませんが、各班に還元するためにも今後は開示する必要があると考えます。この方法として

- ・ 評価小委員が、4名の委員のまとめをして開示する。  
45%
- ・ 班名は明らかにするが評価内容が4人の委員の誰によるかは明らかにしない。 42%
- ・ 班名も各評価小委員の氏名も明らかにしていく。  
10%
- ・ 個別の班名をださずに総括的にコメント中心にまとめていく。 3%

#### E. 評価班より提言いたしました「特定疾患対策研究事業に対する評価票に関する資料」について

- ・ 役に立った。 88%
- ・ 役に立たなかった。 4%

#### F. 評価小委員のコメントより指摘の多かった項目について、下記の項目を設定する必要があるでしょうか。

- ・ 主任研究者より班員への班の目的の周知徹底 58%
- ・ 班内の協同研究の状況 49%
- ・ 班員の専門領域のバランス 30%

これらアンケート結果をまとめると、

1：現行評価票については、生かされているとする意見が大勢（77%）を占めていたが、生かされていないとする中には、この評価がどのように生かされたかが示されないため判断できないと言う意見が、いくつか見られた。やはり情報開示が求められている。

2：評価項目も90%がこれでよいとしていたが、減らすべきものとしては、すべてが「連携状況」を不要としていた。

3：評価項目の評価の仕方についても出来るだけコメントを必要とする意見が多くみられた。ただ「連携状況」については、評価そのものが困難とするものがあった。従って、評価不要というなかにも、「連携状況」「若手研究者の育成」などがあげられていた。

4：コメントについては、特に低い評価については記載する必要があるという意見が多かった。

5：一つの班での評価で小委員の評価が大きく分かれることが散見された。評価される側にすれば、評価が分かれる場合研究を修正する方向性を決定することが困難となる。従ってこのことについては、評価小委員長がまとめるという意見が、60%をしめた。さらには多忙な評価小委員には困難かも知れないが、意見交換を行い評価小委員会として、まとめるほうがよいという積極的な意見もみられた。

6：班会議の日程については、従来より、評価小委員が出席できない日程で班会議が開催されており、主任研究者に評価をうける姿勢がないと極めて厳しい意見が多々だされていた。今回のアンケートでも、評価小委員が重なっている班の会議を合同で行うことまで求める意見もあったが、少なくとも日程調整を行う必要は70%の委員があると考えていた。

7：評価小委員の権限については、60%に強化すべきとの意見が見られた。

評価小委員の位置づけが明らかになり、権限が強化されれば、6であげたような、班会議に評価小委員が出席出来ないような日程を組むなどの事態は回避できると思われる。

8：評価の開示についても、その方法には意見の相違がみられた。開示することにより、評価小委員の責任ある評価の下に、各班が行うべき研究の方向性や修正すべき点が明らかになれば、厚生科学研究の目的によりかなうものとなるといえる。

#### D. 結論

特定疾患治療研究事業の見直し評価を行い、新たな対象疾患の提案を行った。これまでの評価体制の問題点を指摘するために評価小委員によるアンケート調査の解析を行った。この結果は今後の評価体制の改善に役立つものとする。

#### E. 健康危機情報

特記すべきことなし。

#### F. 研究発表

誌上発表  
〔雑誌〕

I.Ochiai K.\*, Ozaki S.\*, Tanino A., Watanabe S., Ueno T., Mitsui K., Toei J., Inada Y., Hirose S.,

- Shirai T. and Nishimura H. (\* the first two authors contributed equally to this work): Genetic regulation of anti-erythrocyte autoantibodies and splenomegaly in autoimmune hemolytic anemia-prone New Zealand Black mice. *Int. Immunol.* 12 (1): 1-8, 2000.
2. Tanaka M., Kishimura M., Ozaki S., Osakada F., Hashimoto H., Okubo M., Murakami M. and Nakao K.: Cloning of novel soluble gp130 and detection of its neutralizing autoantibodies in rheumatoid arthritis. *J. Clin. Invest.* 106(1): 137-144, 2000.
3. Nishimura H. and Ozaki S.: Practical approaches to determining disease-susceptible loci in multigenic autoimmune models. *Intern. Rev. Immunol.* 19: 335-366, 2000.
4. Ozaki S.: ANCA in inflammatory bowel disease. *J. Gastroenterol.* 35: 721-723, 2000.
5. Ma W., Ozaki S., Sobajima J., Uesugi H., Murakami M., Tanaka M., Kozuki M., Hashimoto H., Fujita Y., Kawabata D., Osakada F., Shirakawa H., Yoshida M., Hayami M. and Nakao K.: Detection of anti-neutrophil cytoplasmic antibodies in MRL/lpr/lpr mice and analysis of their target antigens. *Autoimmunity* 32: 282-291, 2000.
6. Yahata K., Mori K., Arai H., Koide S., Ogawa Y., Mukoyama M., Sugawara A., Ozaki S., Tanaka I. and Nakao K.: Molecular cloning and expression of a novel klotho-related protein. *J. Mol. Med.* 78: 389-394, 2000.
7. Okazaki T., Ozaki S., Nagaoka T., Kozuki M., Sumita S., Tanaka M., Osakada F., Kishimura M., Kakutani T. and Nakao K.: Antigen-specific Th1 cell as direct effectors of Propionibacterium acnes-primed lipopolysaccharide-induced hepatic injury. *Int. Immunol.* 13 (5): 607-613, 2001.
8. Shibata T., Yamasaki E., Shimojo S., Mizoguchi M., Ozaki S.: Heterogeneity of Central Nervous System Manifestation of Sweet's Syndrome: Contribution of Underlying Behcet's Disease. *聖マリアンナ医科大学雑誌* 29: 519-527, 2001.
9. 尾崎承一: 免疫抑制薬の分類と臨床整理。今月の治療 8(5): 102-108, 2000.
10. 上杉裕子、尾崎承一: 血管炎症候群。Medical Practice 17(10): 1685-1688, 2000.
11. 田中真生、尾崎承一: 可容型 gp130 と慢性関節リウマチ。免疫・Immunology Frontier 11(2):46-52, 2001.
12. 尾崎承一、傍島淳子: 自己免疫性肝疾患と ANCA。Bio Clinica 16(5):90-95, 2001.
13. 尾崎承一: 結節性多発動脈炎。毎日ライフ 6: 40-44, 2001.
14. 尾崎承一、田中真生: 慢性関節リウマチの新規自己抗原のクローニング。組織培養工学 27 (5): 20-23, 2001.
15. 橋本博史、吉木敬、尾崎承一他 26 名: 厚生労働省厚生科学特定疾患・難治性血管炎に関する調査研究報告。日本臨床免疫学会会誌 24 (6):336-346, 2001.
16. Shibata T., Yamasaki E., Shimojo S., Mizoguchi M., Ozaki S.: Heterogeneity of Central Nervous System Manifestation of Sweet's Syndrome: Contribution of Underlying Behcet's Disease. *聖マリアンナ医科大学雑誌* 29: 519-527, 2001.

〔単行本〕

1. 尾崎承一: 血管炎症候群の診断と病態把握: 免疫血清学的検査。「血管炎」(長澤俊彦監修・橋本博史編集)、朝倉書店(東京)、PP・113-118, 2001.
2. 尾崎承一: 慢性関節リウマチ。「知っておきたい骨・関節疾患の新たな診療」(西岡久寿樹監修) 真興交易(東京)、PP・46-73, 2001.

〔厚生労働省研究班業績〕

1. 尾崎承一・馬 衛・傍島淳子・上杉裕子・中尾一和・三森経世・吉田充輝: MRL-lpr マウスの P-ANCA 対応抗原の解析。厚生科学研究研究費補助金特定疾患対策研究事業、難治性血管炎に関する調査研究班、平成 12 年度研究報告書。pp.146-151, 2001.

H. 知的財産権の出願・登録状況  
なし

表1 新しく提案された対象疾患：10疾患

---

血液系疾患	先天性血栓性素因
免疫系疾患	原発性（一次性）抗リン脂質抗体症候群
内分泌代謝疾患	若年発症1型糖尿病
神経系疾患	線条体黒質変性症 進行性核上性麻痺
皮膚疾患	重症魚鱗癬群
骨・関節系疾患	超高度骨粗鬆症 特発性多発性椎間板変性症
腎・泌尿器系疾患	血管炎 血栓形成細小血管症

---

# 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

### 特定疾患診断のための指定医制度について

分担研究者 三木 知博 東亜大学 生命科学工学

#### 研究要旨

特定疾患はその稀少性を特徴とするが、そのために一般臨床医は複数の症例を見ることが少なく、時として不正確な診断がなされることも少なからずある。このことは、患者にとって不適切な治療をうけるといった問題があるばかりでなく、不必要な公費負担が生じることがある。さらには症例数の少ない特定疾患の疫学研究にとっては、一例一例が大きな意味を持っており、誤ったデータ集積をおこなっても何ら正しい成績は得られないことになる。難病といわれる特定疾患について、指定医をもうけることは、その医師の地域分布等、患者に負担のかからないような最大限の配慮は必要である。治療は主治医に依頼するとしても、指定医による正確な診断・的確な治療指針を決定できることが、その後の患者にとって、より適切な治療を受けるという意味において重要であると言える。

さらに特定疾患対策研究事業においてよりよい研究の進展をすすめるために必要な研究および評価体制の改善を目指し、現評価票により行われた評価内容を検討し、問題点を解析した。

#### A. 研究目標

特定疾患は、稀少性がその特徴となっている。したがって一般臨床医は、特定疾患患者を診察することは稀であるといえる。すなわち十分な知識もない医師が、不正確な診断を行うことは、不適切な治療を受けなおかつ不安にさいなまれ QOL を低下させるなど患者にとって不幸であるばかりでなく、不必要な公費負担を生ずることになりかねない。

さらには、特定疾患は症例数が少ないために、病態の解析や治療の指針を策定していくためにも疫学研究は極めて重要な意味を持っている。この疫学研究は、当該疾患の患者を正確に把握することによってその後の分析結果も、有用なものとなりうる。逆に言えば、違った疾患の患者を誤って入れた場合には、稀少疾患であるが故に、それがもたらす影響は大きなものとなり、ひいては疫学データそのものの信憑性をも揺るがしかねないことになる。

そこで、評価班としては、より正確な診断を行うことにより、当該疾患患者により適切な治療を提供できると考え、さらに特定疾患研究とりわけ疫学研究に正確な情報を提供することにより、診断基準の策定や、治療指針にも有効であるとの観点から、「指定医」についての検討をおこなった。

当然のことながら、日本全国に点在し居住する各種の難病疾患罹患患者にとって、この様な指定医制度を設置することが、望ましいかどうかは十分に討議し、そ

の merit と demerit を比較検討する必要がある。すべてをここで網羅することは出来ないが、いくつかの例を挙げてみる。

#### 【merit】

- 1：専門的な立場から、正確に診断することが出来る。
- 2：診断に基づいた治療指針がたてられる。
- 3：誤った診断から生ずる無用の治療の排除ができる。
- 4：疾患を理解した説明で患者の QOL の向上が得られる。
- 5：疫学に資するデータが正確になる。

#### 【demerit】

- 1：指定医の分布によっては、患者の負担増加がある。
- 2：増悪時、緊急時の対応が困難になる可能性がある。
- 3：全身疾患の場合は、指定医であっても専門以外での診断は困難である。

この他、指定医のレベルをどのように確保するかなど多くの問題はあるが、医療の基本である正確な診断に基づく適切な治療が、難病である特定疾患にも当然求められることを考えるとき、「指定医」について検討する必要があると言える。

これらのことを踏まえて、評価班は、各専門分野の専

門医に依頼し「指定医」制度について検討を加えた。

## B. 研究方法

1) 指定医制度の妥当性と運用に関する提言について  
評価班より、外部委員会として各専門分野別に専門医に依頼して「指定医」制度についての意見を聴取した。

### 2) 科学的評価

評価小委員にアンケート調査を実施し、その解析を行った。

## C. 研究結果および考察

### 1) 指定医制度の妥当性と運用に関する提言について

従来の特定疾患は包括的に疾患が含まれている。しかしながら、全身性疾患と位置付けられていても傷害される臓器は様々であり、さらに一つの疾患の中でも、極めて軽微なものから致死的な重度のものまで異なった病態が混在している。従って今後は、単に一疾患単位ではなく、侵襲臓器や重症度に基づいて治療研究事業を推進していくことが必要であると考えられる。また、正確な疫学事業も重要であるが、そのためにも、正確な診断と病態の評価が必要である。このような背景に鑑み、今後の特定疾患患者の診断と評価を遂行する「指定医」を各特定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の必要性が指摘されている。そこで各専門分野の先生方からの指定医制度についての意見を以下にまとめた。

#### 血液系疾患

特定疾患対策研究事業は単なる患者への福祉対策ではなく、医療の質の向上も勿論重要であり、その為に「指定医」の概念は賛成です。疾患の正確なデータベースを作る為には、診断時の登録のみならず、患者の個人情報保護を担保しながら患者が治療経過中にもたらす重要な情報をまとめることは必要であり、その為に一定の資格を有する者に認定を始めたとする作業をまかせるべきである。その認定については、血液学領域においてはその専門性が高く、学会との連携で議論が可能と考えます。（認定医・専門医）

但し、事前に地域による偏りがあるか調査することが必要です。

#### 免疫系疾患

1) 本事業の目的はきちんとした患者背景のもとに、これを利用して、疾患の原因や治療法を確立する事にあります。県の特定疾患の認定医を命じられていますが、その際の認定のされ方が書類だけですので、中にはその診断の確かさを疑わ

ざるを得ないものが多く存在します。しかし書類上のつじつまは合っているのに、認めざるを得ません。この様な患者データをもとに更なる研究に利用することはむしろ misleading であると考えます。資格はとにかく指定医をおく事には賛成ですし、患者に対しても単なる福祉ではなく、研究に参加しているという意識をもらい、個人票も研究に結びつく様な形に変更すべきであると考えます。

2) 現行の審査過程を、一次認定とし、診断基準項目以外の症状等を指定医によって二次審査、二次認定するシステムはどうでしょうか？指定医の負担を軽減させるためには、一次認定の際に、実際のデータを添付し、それだけ（書類審査）で、二次審査をパスできる様な方向性もあると思います。

#### 内分泌・代謝性疾患

本研究事業が有用なものとして継続されていくためには、患者が正確に診断されることが必須である。この基盤なしに国民に受け入れられる研究事業とはなりえない。

従って指定医の認定はまことに妥当であると考えます。誰を指定医とするのか、指定医の制度をどのように運用するか、今後つめるべき課題は残されているが、煩雑にしすぎず、安易にせず、ポイントをおさえた指定医の制度が設立されることを希望する。

#### 視覚系疾患

疾患の指定医に関してであるが、これら疾患の特異性、眼科の特異性から考えれば、わざわざ指定した医師のみが評価することは患者の煩雑性からみて問題が多いといえる。これらの疾患の判定に関していえば、ある程度の技量をもつ眼科医であれば十分可能である。その重症度の判定や、診断自身が極めて困難な疾患であれば指定医師を設ける必要があることは十分理解できるが、網膜脈絡膜萎縮変性症に関していえば、その患者の分散率を考えた場合、いたずらに指定医師を作ることはかえって患者の混乱を招きかねないし、また利便性を考えた場合にも得策でないと思う。

#### 聴覚・平衡機能系疾患

前庭機能異常に関しては、日本めまい平衡医学会で認定した専門会員（①）で良いと思う。

急性高度難聴に関しては、日本聴覚医学会、オージオロジー学会等に適切な人材（②）を指名していただく等で質の向上がはかれると思う。いずれにしても必要と思うので、①と②でオーバーラップする人を指定医としてはどうか。

## 呼吸器系疾患

対象疾患によって異なる。

肺胞低換気症候群の診断・治療が可能な施設は現状では限られており、指定医だけでなく施設の指定も必要である。

原発性肺高血圧症や慢性肺血栓塞栓症も施設は限定されると思われる。従って診断設備の確認は行い、指定医を認定することが考えられよう。

肺気腫やⅡPはかなり多く経験される症例であり呼吸器専門医であれば確実な診断能力は必須であろう。従って画一的でない対応が必要と考える。

## 神経・筋疾患

脳神経領域の特定疾患の診断は、日本神経学会の専門医（全国で3200人位）が行い、指定医となるのが適当と考える。

## 皮膚疾患

疾患によっては指定医は必要である。特に診断に関して、電顕、酵素抗体法などの技術を要する疾患もある。但し診断を全て指定医に任せるのは負担が多すぎる。問題のあるものに限るべきである。

稀少疾患に関しては治療指針を示し、指定医でなく専門医が携わるべきと考える。

指定医の人数、行うべき仕事の範囲など検討すべき点が多い。

## 消化器系疾患

- 1) 指定医の導入に関する考え方は支持できる。しかし、その役割を個々の診断の妥当性の判断に限ると、実際の運用上、患者の通院の便宜などにも大きな問題が残る。診断基準が明確な分野では指導医の役割を各地域におけるその基準の適正な運用の促進に活用するほうが妥当でないかと考える。たとえば、難治性疾患、特定疾患に関する地域の研究会を指導医が主導することとし、それに対する支援を強化する。
- 2) 正確な診断と病態の評価は、疫学的データの基盤となり、また病態解明と治療法開発のために必要であり、「指定医」の役割と意義は大きいと思われる。しかし例えば潰瘍性大腸炎が下痢など一般的な症状を契機に診断されること、またそれゆえに「指定医」レベルに達するまでの診断の正確さが要求されることなどから、診断基準や疾患に対する啓蒙を広く行っていくことが望まれる疾患も存在する。

## 骨・関節系疾患

指定医を設ける趣旨は理解できるが、実際の運用は難しい点が多いだろう。労災の判断を依頼している各

地方の労災医員や、身体障害の診断書を担当している指定医があるが、すべての患者が指定医にかかる機会を持つには、かなりの人数を指定しなくてはならない。指定医の能力も実際には一様ではない。結局は書類審査をすくなくとも一部は採らざるを得ないのではないか。症状の軽重の判断だけが必要なのであれば、身障などの診断の有資格者を活用できないか。現場で書く書類は既に多くなりすぎて診療の妨げにもなっている。要点をしぼった書式にしてほしい。疾患により実情が違うと思うので、問題の多い疾患だけを個別に取り上げて指定医制を発案してはどうか。

## 腎・泌尿器系疾患

今後、腎疾患に関する治療法の標準化を目指すためには、「指定医」は必要と思われます。ある一定の基準で任命された「指定医」がいる施設のみが臨床試験に参加できるようにすれば、臨床試験の信頼性は確保できると思われる。

## 循環器系疾患

疾患を取り扱う関連専門学会の学会認定専門医が指定医として妥当と思われます。この専門医は経験症例数と試験によって公正に認定されたものです。このような方法を選択しないかぎり、公正な基準での指定医を任命できないと思われます。またこの専門医が指定医であれば、特定疾患の診断基準に則して判定できると思われます。さらに認定専門医は、患者の居住する地域から遠くない医療施設に勤務していると思われ、患者にとって指定の認定が受けやすいことにもつながると考えられます。

### 2) 科学的評価

成11年度より当評価研究班は、各研究班が行ってきた研究をいかに客観的に評価しその後の研究に役立て、稀少ではあるが難病に苦しむ患者および患者家族に還元していくかを大きな柱として検討してきた。評価小委員からのアンケート調査結果を踏まえて、これまでに得られた評価に関する改善点をまとめてみた。

1：現行評価票は、有用ではあるが、その項目には評価しにくいものがあったり研究内容と関係ないものもあり、また臨床調査研究部門・横断的基礎研究部門・重点研究部門と目的の異なる3部門があることとあわせて、評価項目の整理をした評価票の策定が必要である。

2：評価も点数表示のみでなく、特に問題のある研究内容については、出来るだけ詳細なコメントが必要であろう。

3：本研究は厚生科学研究費により行われており、国民に還元されるべきものであり、客観的評価に基づき

研究の方向性を決定して行かなくてはならないが、そのためには、評価小委員の行った評価が、開示されると共に各班の研究の方向性に取り入れられる必要がある。従って評価小委員の位置づけを確固たるものとし、評価が低ければ該当班を廃止するなどの必要もある。

4：したがって、方法はいかようであれ、評価小委員が、評価できるような形で班会議もしくは評価に資するものが必要である。

#### D. 結論

以上、「指定医」制度について、各専門家から意見を得たが、指定医制度が、診断の精度を上げることに有用であり、そのことが治療にもつながるとの意見が多く概ね肯定的であった。しかし診断基準が明確でかつ症例数の多い疾患については必要性を認めないなど、疾患によって取り扱いを変える必要があるといえる。

いずれにしても、特定疾患の研究・治療については、その入り口にあたる診断を正確にすることが最も基本であることは疑いのないところである。そのためには指定医制度もひとつの方策として、merit と demerit を十分検討しつつ、よりよい対策事業にしていく必要がある。

#### 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

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

特定疾患受給者数の将来予測について

分担研究者 長谷川敏彦 国立医療・病院管理研究所 医療政策研究部

研究要旨 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。

研究協力者  
香川医科大学 平尾智広

A. 研究目的

特定疾患受給者数の将来予測を行う。また各特定疾患受給者の傾向を知り、疾患別の将来受給者数を推定する。

B. 研究方法

特定疾患受給者予測の特徴

特定疾患受給者数の予測は通常の疫学モデルの有病数（率）の推定となる。有病率の推定には、罹患率、寛解率、致死率、全死因による死亡率などが必要であるが、これを特定疾患受給者に当てはめると、新規登録率、寛解など死亡以外による登録抹消率、登録者の当該疾病による致死率、全死因による死亡率となる。

しかし特定疾患受給者においては、通常の疫学的事象以外に、①寛解後も受給を継続する幽霊受給者。②軽症の場合の受給の中断や登録忘れ、③有病者であるが未登録の者、④登録基準の変更（例：パーキンソン）などが存在し、必ずしも疾病の正確な状態を反映していないことがある。

また、利用できるデータが限られており複雑なモデルの構築ができないなどの制限がある。

本報告における推定方法

このような状況を踏まえ、本研究では受給者の増減率に着目し、そのトレンドを補外することにより将来予測を行なった。また各性年齢階級別の増減率の予測は行わず、全年齢階級を一括して予測した。全受給者の予測は単独に行い、主要疾病についての個別予測を加えた。

方法 1（総数推定）

特定疾患受給者証交付件数、増加数を用いて予測式を作成し、受給者証交付件数を推定した。ここでは交付件数を受給者推定値とした。

- Step1 各年度の増加数を人口で除し、人口当たりの増加率を算出する。
- Step2 増加率より回帰式を求め、平成 13～27 年（2001-2015 年）の予測増加率を補外する。
- Step3 平成 13 年度以降の予測増加率に、推定人口（人口問題研究所下位推定）を乗じ、平成 12 年度受給者証交付件数に加算し受給者数を推定する

方法 2（性・年齢階級別推定）

性・年齢階級別受給者数、新規登録者数（1984 年、1988 年、1992 年、1997 年）より推定を行なった。また地域保健事業報告の 1998 年、1999 年の性別受給者数を一部利用した。

- Step1 1984、1988、1992、1997 年の受給者数か

ら、その期間の性・年齢階級別増加数を求める。

例えば 1992 年の 50-54 歳の受給者 N1 人は、その後の 5 年間に変化がなければ、5 年後の 1997 年には 55-59 歳の受給者 N2 人と同一なる。しかし、この 5 年間には、登録抹消、新規登録、疾患による死亡、その他の原因による死亡の事象が発生することから、N2-N1 を、すべての事象の結果としての増減と捉え、人口当たりの年ベース増加率を算出する。

1984~88 年、1988~92 年も同様に増加率を求めるが、期間が 4 年間のため、各階級の 4/5 が 4 年後に次の年齢階級に進み、1/5 は同じ年齢階級に留まると仮定を行い算出する。

Step2 各期間のトレンドを分析する。

1984-88 年、1988-92 年、1992-97 年の年齢階級別増加率をプロットして、各期間のトレンドの変化をみる。大きな変化がない場合には 1992-97 年の増加率を基本的トレンドとみなす。

Step3 基本トレンドを元に各期間の期待増加率を求め比を算出する。

基本増加トレンドに各年の人口を乗じることにより期待増加数を求め、実際の増加数との比を算出する。これは年齢調整における SMR に準じた方法である。1997-98 年、1998-99 年については、地域保健事業報告書の性別総数を用いる。

### C. 研究結果と考察

#### ・方法 1 (総数推定)

#### 推定受給

年度	予測	下限	上限
2001	504,963	499,752	510,173
2002	538,731	528,007	549,455
2003	573,609	557,065	590,154
2004	609,589	586,916	632,263
2005	646,661	617,547	675,774
2006	684,811	648,947	720,675
2007	724,029	681,103	766,954
2008	764,297	713,999	814,595
2009	805,601	747,621	863,580
2010	847,922	781,954	913,889
2011	891,241	816,981	965,501
2012	935,538	852,684	1,018,392
2013	980,791	889,045	1,072,537
2014	1,026,978	926,047	1,127,909
2015	1,074,074	963,669	1,184,479

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

#### 方法 2 (性・年齢階級別推定)

#### 推定受給

		予測	上限	下限
男性	1984	33,437		
	1988	62,974		
	1992	93,251		
	1997	158,766		
	2000	195,008	219,146	170,871
	2005	263,401	346,285	180,518
	2010	336,660	502,709	170,611
	2015	409,405	681,245	137,566
女性	1984	71,334		
	1988	110,663		
	1992	154,274		
	1997	240,953		
	2000	290,868	316,188	265,517
	2005	385,087	471,258	298,916
	2010	484,636	655,658	313,614
	2015	583,461	860,959	305,970
総数	1984	104,771		
	1988	173,637		
	1992	247,525		
	1997	399,719		
	2000	485,813	535,138	436,487
	2005	648,352	816,794	479,909
	2010	821,172	1,156,727	485,617
	2015	992,891	1,539,297	446,485

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

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。

#### D. 結論

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。

#### E. 研究発表

晝間紀子、平尾智広、北村能寛、長谷川敏彦. 難病患者のメタ分析. 第 60 回日本公衆衛生学会 高松 2001

## 資料1 特定疾患受給者数の将来予測

### 目的

特定疾患受給者数の将来予測を行う。また各特定疾患受給者の傾向を知り、疾患別の将来受給者数を推定する。

### 疾病の将来予測について

疾病の死亡率の将来予測は多くの研究者により試みられているが、その方法論には少なくとも3つの特徴がある。

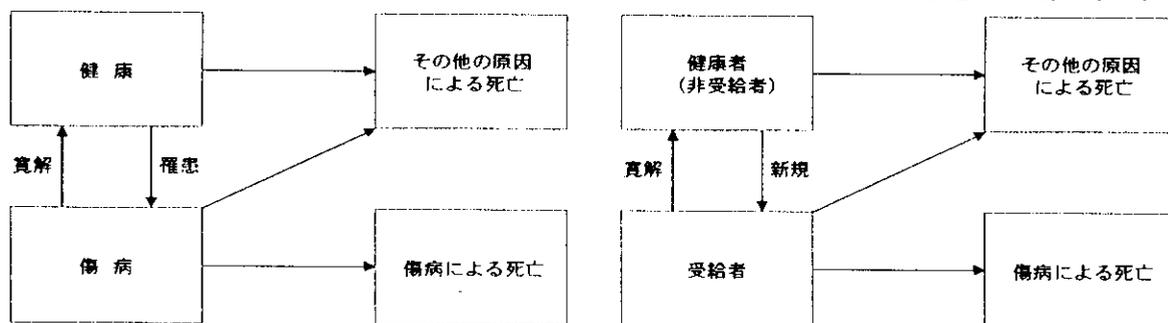
1. ①全死因についてその疾病構造を考慮せずに予測するか、②疾病をいくつかのグループに分け、それぞれにおける予測値を和して行なうもの。
2. ①過去の死亡データよりトレンドを発見し補外して予測するか、②死亡データと他の変数との関係式を導いて予測するもの。
3. ①全年齢階級の死亡を同時に予測するものか、②各性年齢階級毎にトレンドを予測するもの。  
いずれも一長一短であるが、良い予測には質の良い時系列データの確保が必要となる。

### 特定疾患受給者予測の特徴

特定疾患受給者数の予測は通常の疫学モデルの有病数(率)の推定となる。有病率の推定には、罹患率、寛解率、致死率、全死因による死亡率などが必要であるが、これを特定疾患受給者に当てはめると、新規登録率、寛解など死亡以外による登録抹消率、登録者の当該疾病による致死率、全死因による死亡率となる。

しかし特定疾患受給者においては、通常の疫学的事象以外に、①寛解後も受給を継続する幽霊受給者。②軽症の場合の受給の中断や登録忘れ、③有病者であるが未登録の者、④登録基準の変更(例：パーキンソン)などが存在し、必ずしも疾病の正確な状態を反映していないことがある。

また、利用できるデータが限られており複雑なモデルの構築ができないなどの制限がある。



### 本報告における推定方法

このような状況を踏まえ、本報告では受給者の増減率に着目し、そのトレンドを補外することにより将来予測を行なった。また各性年齢階級別の増減率の予測は行なわず、全年齢階級を一括して予測した。全受給者の予測は単独に行い、主要疾病についての個別予測を加えた。

### 方法 1 (総数推定)

特定疾患受給者証交付件数、増加数（昭和 49 年度～平成 12 年、1974-2000 年：難病情報センターホームページ <http://www.nanbyou.or.jp/>）を用いて予測式を作成し、受給者証交付件数を推定した。ここでは交付件数を受給者推定値とした。

Step1 各年度の増加数を人口で除し、人口当たりの増加率を算出する。

Step2 増加率より回帰式を求め、平成 13～27 年（2001-2015 年）の予測増加率を補外する。

Step3 平成 13 年度以降の予測増加率に、推定人口（人口問題研究所下位推定）を乗じ、平成 12 年度受給者証交付件数に加算し受給者数を推定する。

### 結果

回帰式 増加数 =  $-1683.571 + 0.8542391 \text{ 年}$   
 RSquare 0.646338

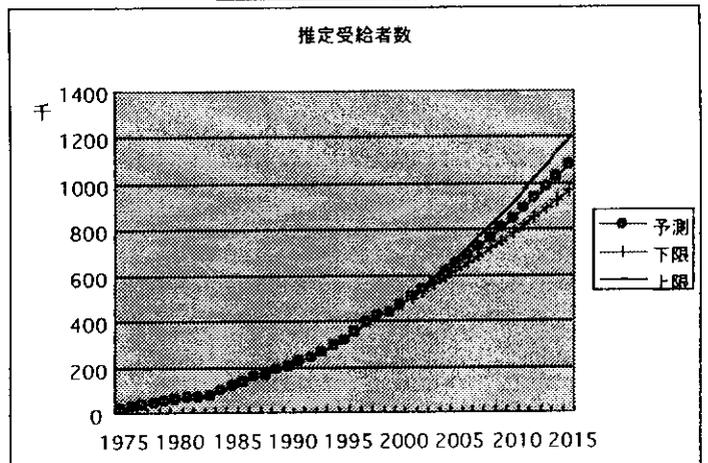
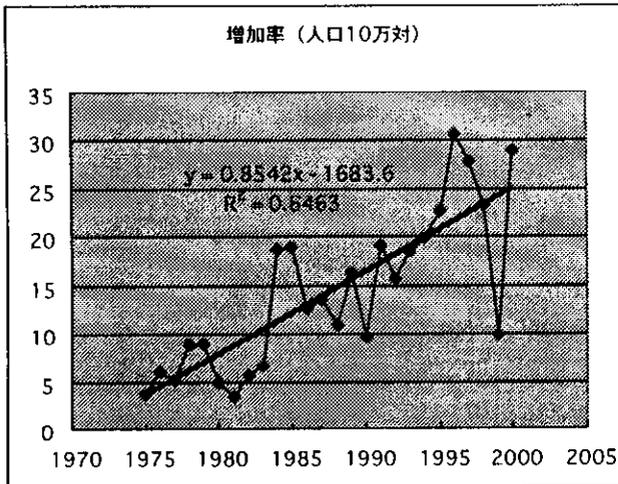
推定受給者数

年度	予測	下限	上限
2001	504963	499752	510173
2002	538731	528007	549455
2003	573609	557065	590154
2004	609589	586916	632263
2005	646661	617547	675774
2006	684811	648947	720675
2007	724029	681103	766954
2008	764297	713999	814595
2009	805601	747621	863580
2010	847922	781954	913889
2011	891241	816981	965501
2012	935538	852684	1018392
2013	980791	889045	1072537
2014	1026978	926047	1127909
2015	1074074	963669	1184479

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

昭和 49 年～平成 12 年のデータ

年度	給付証交付数	増加数
1974		
1975	21694	4099
1976	28446	6752
1977	34189	5743
1978	44344	10155
1979	54631	10287
1980	60472	5841
1981	64568	4096
1982	71208	6640
1983	79152	7944
1984	101600	22448
1985	124421	22821
1986	139785	15364
1987	156377	16592
1988	169906	13529
1989	189997	20091
1990	201952	11955
1991	225627	23675
1992	245195	19568
1993	268289	23094
1994	291856	23567
1995	320330	28474
1996	358917	38587
1997	393890	34973
1998	423307	29417
1999	435678	12371
2000	472312	36634



### 方法 2 (性・年齢階級別推定)

特定疾患治療研究医療受給者調査報告書（1984年、1988年、1992年、1997年）には、性・5歳階級別受給者数、新規登録者数が記載されている。これより年齢階級別受給者数、増加数を求め推定を行なった。また地域保健事業報告の1998年、1999年の性別受給者数を一部利用した。

**Step1 1984、1988、1992、1997年の受給者数から、その期間の性・年齢階級別増加数を求める。**

例えば1992年の50-54歳の受給者N1人は、その後の5年間に変化がなければ、5年後の1997年には55-59歳の受給者N2人と同一なる。しかし、この5年間には、登録抹消、新規登録、疾患による死亡、その他の原因による死亡の事象が発生することから、 $N2 - N1$ を、すべての事象の結果としての増減と捉え、人口当たりの年ベース増加率を算出する。

1984～88年、1988～92年も同様に増加率を求めるが、期間が4年間のため、各階級の4/5が4年後に次の年齢階級に進み、1/5は同じ年齢階級に留まると仮定を行い算出する。

**Step2 各期間のトレンドを分析する。**

1984-88年、1988-92年、1992-97年の年齢階級別増加率をプロットして、各期間のトレンドの変化をみる。大きな変化がない場合には1992-97年の増加率を基本的トレンドとみなす。

**Step3 基本トレンドを元に各期間の期待増加率を求め比を算出する。**

基本増加トレンドに各年の人口を乗じることにより期待増加数を求め、実際の増加数との比を算出する。これは年齢調整におけるSMRに準じた方法である。1997-98年、1998-99年については、地域保健事業報告書の性別総数を用いる。

年ベースの期待増加数と実測増加数	男女計			
	1984-88	1988-92	1992-97	1997-98
期待増加数	108513	114562	151293	31288
実測増加数	68866	73888	152194	25803
比	0.63464	0.64496	1.00596	0.82470

**Step4 求めた比より将来の推定比を求める。**

1984-88年、1988-92年、1992-97年、1997-98年、1998-99年の比より回帰式を作成し、2000年、2005年、2010年、2015年の推定比を求める。

**Step5 推定比より推定受給者数を求める。**

2000年、2005年、2010年、2015年の推定比に性年齢階級別将来人口を乗じ、推定受給者数を算出する。なお高齢者についてはデータが不足しているため、85歳以上の受給者については5年後には受給しないと仮定する。

## 結果

推定受給者数（方法 2）

		予測	上限	下限
男性	1984	33437		
	1988	62974		
	1992	93251		
	1997	158766		
	2000	195008	219146	170871
	2005	263401	346285	180518
	2010	336660	502709	170611
	2015	409405	681245	137566
女性	1984	71334		
	1988	110663		
	1992	154274		
	1997	240953		
	2000	290868	316188	265547
	2005	385087	471258	298916
	2010	484636	655658	313614
	2015	583464	860959	305970
総数	1984	104771		
	1988	173637		
	1992	247525		
	1997	399719		
	2000	485813	535138	436487
	2005	648352	816794	479909
	2010	821172	1156727	485617
	2015	992891	1539297	446485

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95%信頼区間より算出した。

### 方法 1 と方法 2 について

どちらの方法も、ある一定期間の増減のトレンドを回帰式にて予測している。方法 1 は性・年齢構成、人口の高齢化等を考慮せず、人口当たりの増減トレンドのみに基づいたものであるが、予測に使用できるデータ数が多い。

一方、方法 2 は、年齢階級ごとの増減率に基づき、人口構成を考慮して推定している。ただし使用できるデータ数が少なく誤差範囲が大きくなる。また、回帰式より求めた比が 0 未満となる場合には予測はできない。

## 疾病別推定

平成 12 年度の受給者証交付件数は 472,312 件であった。表に交付件数の多い 20 疾病を示したが、上位 5 疾患で約半数、14 疾患で 8 割を占めていた。以下では主要疾患の受給者数推定を行なう。

平成 12 年度特定疾患受給者証交付件数（上位 20 疾患）

疾患名	受給者証交付件数	%	累積	%
潰瘍性大腸炎	66,714	14.1%	66,714	14.1%
パーキンソン病	55,798	11.8%	122,512	25.9%
全身性エリテマトーデス	49,436	10.5%	171,948	36.4%
特発性血小板減少性紫斑病	30,991	6.6%	202,939	43.0%
強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	28,430	6.0%	231,369	49.0%
後縦靭帯骨化症	20,476	4.3%	251,845	53.3%
脊髄小脳変性症	19,901	4.2%	271,746	57.5%
クローン病	19,651	4.2%	291,397	61.7%
サルコイドーシス	19,157	4.1%	310,554	65.8%
網膜色素変性症	18,568	3.9%	329,122	69.7%
ベーチェット病	17,203	3.6%	346,325	73.3%
重症筋無力症	12,738	2.7%	359,063	76.0%
特発性拡張型（うっ血型）心筋症	12,092	2.6%	371,155	78.6%
原発性胆汁性肝硬変	10,689	2.3%	381,844	80.8%
再生不良性貧血	10,226	2.2%	392,070	83.0%
ピュルガー病	10,089	2.1%	402,159	85.1%
特発性大腿骨頭壊死症	8,965	1.9%	411,124	87.0%
多発性硬化症	8,786	1.9%	419,910	88.9%
ウイルス動脈輪閉塞症	8,240	1.7%	428,150	90.6%
筋萎縮性側索硬化症	5,738	1.2%	433,888	91.9%

## 潰瘍性大腸炎

### 方法 1

推定受給者数 (方法 1)

年度	予測	下限	上限
2001	72134	71568	72699
2002	77765	76601	78929
2003	83608	81812	85403
2004	89660	87199	92120
2005	95919	92759	99079
2006	102384	98492	106277
2007	109053	104394	113712
2008	115923	110464	121382
2009	122990	116698	129283
2010	130253	123093	137413
2011	137707	129647	145767
2012	145349	136357	154342
2013	153176	143218	163133
2014	161182	150228	172137
2015	169365	157382	181348

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

### 方法 2

推定受給者数 (方法 2)

	年	予測	上限	下限
男性	1984	3711		
	1988	8623		
	1992	14557		
	1997	26365		
	2000	34260	35594	32925
	2005	49395	53934	44856
	2010	66633	75673	57593
	2015	85207	99938	70476
女性	1984	5482		
	1988	9826		
	1992	15307		
	1997	25896		
	2000	32991	34312	31669
	2005	46422	50897	41947
	2010	61393	70257	52529
	2015	77293	91666	62921
総数	1984	9193		
	1988	18449		
	1992	29864		
	1997	52261		
	2000	66847	69382	64312
	2005	94614	103206	86021
	2010	125859	142902	108816
	2015	159229	186895	131564

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

## パーキンソン病

### 方法 1

推定受給者数

年度	予測	下限	上限
2001	59534	58296	60772
2002	63377	60820	65934
2003	67326	63367	71285
2004	71380	65937	76823
2005	75537	68526	82548
2006	79797	71135	88460
2007	84158	73760	94556
2008	88618	76401	100835
2009	93176	79057	107295
2010	97829	81725	113933
2011	102576	84404	120747
2012	107414	87094	127735
2013	112342	89792	134891
2014	117356	92498	142214
2015	122454	95209	149699

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95%信頼区間より算出した。

### 方法 2

推定受給者数 (方法 2)

		予測	上限	下限
男性	1984	4644		
	1988	8213		
	1992	10837		
	1997	19145		
	2000	23243	27541	18946
	2005	31113	46115	16110
	2010	38949	69575	8323
	2015	46352		
女性	1984	7161		
	1988	12273		
	1992	16368		
	1997	28086		
	2000	33827	39122	28533
	2005	45455	63860	27049
	2010	56805	94272	19339
	2015	67871		
総数	1984	11805		
	1988	20486		
	1992	27205		
	1997	47231		
	2000	57212	67081	47343
	2005	77253	112200	42306
	2010	97007	169087	24927
	2015	115249		

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95%信頼区間より算出した。

## 全身性エリテマトーデス

### 方法 1

推定受給者数

年度	予測	下限	上限
2001	50905	50304	51506
2002	52310	51034	53586
2003	53651	51625	55678
2004	54928	52074	57782
2005	56140	52381	59899
2006	57287	52545	62029
2007	58368	52565	64171
2008	59384	52442	66326
2009	60333	52174	68492
2010	61216	51762	70670
2011	62032	51207	72858
2012	62783	50509	75056
2013	63466	49669	77264
2014	64084	48688	79480
2015	64636	47567	81705

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95%信頼区間より算出した。

### 方法 2

推定受給者数 (方法 2)

		予測	上限	下限
男性	1203	1203		
	2094	2094		
	3023	3023		
	4271	4271		
	4980	4971	5300	4641
	6141	6115	7223	5008
	7267	7166	9340	4993
	8346	8046	11549	4543
女性	17312	17312		
	25268	25268		
	32652	32652		
	40838	40838		
	45109	45082	45321	44842
	51183	51081	51873	50288
	55965	55581	57104	54058
	59507	58329	60738	55919
総数	18515	18515		
	27362	27362		
	35675	35675		
	45109	45109		
	50075	50038	50534	49542
	57267	57138	58781	55495
	63105	62619	65790	59448
	67618	66136	71168	61103

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95%信頼区間より算出した。

## 特発性血小板減少性紫斑病

### その1

#### 推定受給者数

年度	予測	下限	上限
2001	33011	32598	33424
2002	35087	34237	35936
2003	37218	35908	38529
2004	39405	37609	41201
2005	41646	39341	43951
2006	43942	41103	46780
2007	46290	42893	49687
2008	48691	44711	52670
2009	51143	46557	55728
2010	53645	48428	58861
2011	56196	50325	62066
2012	58795	52246	65343
2013	61441	54191	68690
2014	64132	56159	72106
2015	66868	58148	75587

上限、下限は、回帰式の平均に対する95%信頼区間より算出した。

### 方法2

#### 推定受給者数（方法2）

		予測	上限	下限
男性	1984	2454		
	1988	4299		
	1992	5944		
	1997	8732		
	2000	9924	11346	8502
	2005	12583	17492	7673
	2010	15219	25087	5352
	2015	17602	33777	1426
女性	1984	5455		
	1988	9286		
	1992	13638		
	1997	20072		
	2000	23503	26707	20300
	2005	29877	40732	19022
	2010	36152	57561	14743
	2015	41830	76351	7310
総数	1984	7909		
	1988	13585		
	1992	19582		
	1997	28804		
	2000	33430	37859	29001
	2005	42477	57580	27375
	2010	51420	81398	21441
	2015	59524	108123	10924

上限、下限は、回帰式の平均に対する95%信頼区間より算出した。

## 強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎

### 方法 1

推定受給者数

■

年度	予測	下限	上限
2001	30131	29829	30433
2002	31878	31256	32500
2003	33671	32712	34630
2004	35510	34196	36824
2005	37394	35706	39081
2006	39322	37243	41401
2007	41294	38805	43782
2008	43309	40393	46225
2009	45366	42005	48727
2010	47465	43641	51289
2011	49604	45299	53908
2012	51782	46979	56585
2013	53999	48681	59318
2014	56253	50403	62104
2015	58544	52144	64944

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。

### 方法 2

推定受給者数 (方法 2)

		予測	上限	下限
男性	1984	1118		
	1988	2124		
	1992	3083		
	1997	4592		
	2000	5513	5901	5126
	2005	7095	8424	5766
	2010	8658	11316	5999
	2015	10022	14373	5672
女性	1984	6375		
	1988	9686		
	1992	14074		
	1997	19966		
	2000	24021	25154	22887
	2005	31355	35202	27509
	2010	39036	46642	31430
	2015	46416	58754	34078
総数	1984	7493		
	1988	11810		
	1992	17157		
	1997	24558		
	2000	29534	30388	28681
	2005	38456	41363	35550
	2010	47713	53480	41946
	2015	56481	65863	47100

上限、下限は、回帰式の平均に対する 95% 信頼区間より算出した。