

**ICER**  
**Home oxygen therapy vs. No home oxygen therapy**

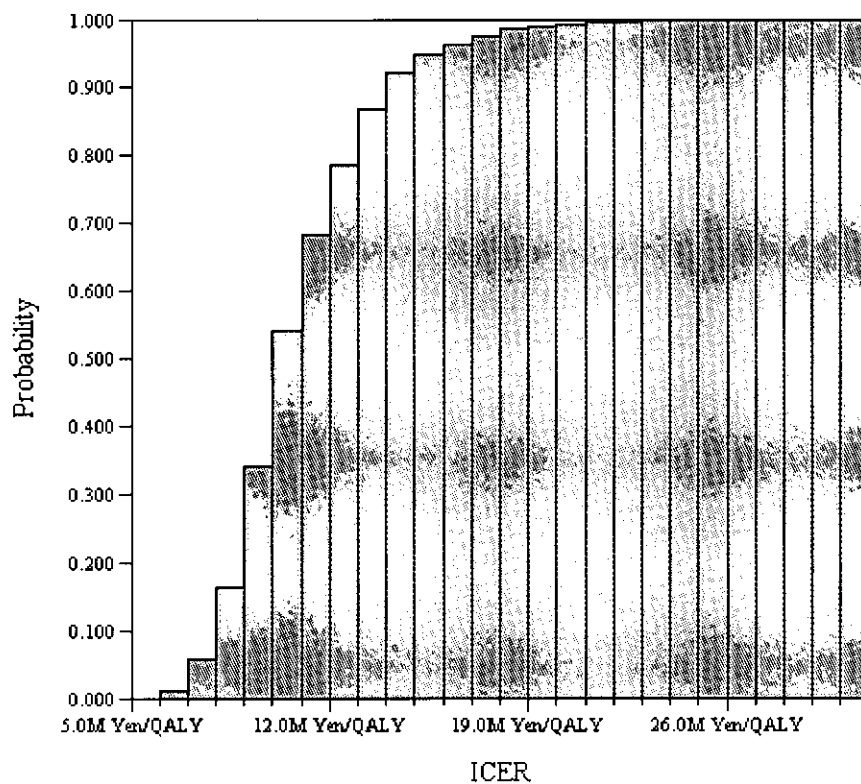


図2。図1の結果から得られた増分費用対効果比の累積分布。

ICER: Incremental cost effectiveness ratio

厚生科学研究費補助金 (難治性疾患克服研究事業)  
研究協力者研究報告書

特定疾患の治療・介入に関するエビデンスの評価

分担研究者 中山 健夫 京都大学大学院医学研究科健康情報学分野 助教授  
研究協力者 齋藤 剛 京都大学大学院医学研究科健康情報学分野 研究生  
武 ユカリ 大正区医師会訪問看護ステーション

研究要旨 特定疾患の経済評価の前段階として、文献データベースを検索して特定疾患(45群 54 疾病)の治療・介入に関するエビデンスの鳥瞰図を作成した。その結果、有効な治療の効率的提供を検討すべき疾患(経済評価の対象疾患)の候補と、Randomized controlled trialなどの研究により検証された治療・介入がなく、治療・介入研究を更に強化すべき疾患の候補とが明らかになった。

A. 研究目的

限られた資源を有効に活用し、より多くの難病患者の健康と福祉の向上を図るために、特定疾患対策を Evidence Based Medicine(EBM)の見地から評価することが求められている。この研究は、特定疾患の治療・介入のエビデンスの現状を把握し、経済評価を含めた今後の研究の方向性について考察することを目的に行った。

B. 研究方法

2003年10月1日現在、特定疾患治療研究事業の公費対象45群54疾患(特定疾患)について、文献研究により治療・介入に関するエビデンスの現状を把握し、併せて特定疾患指定後の患者数の推移を調査した。

(1) 治療・介入に関するエビデンスの現状

文献データベース Pubmed と医中誌 ver.3 を利用して治療・介入に関する文献を検索し、研究デザイン別に整理した。これをも

とに疾病別に治療・介入のエビデンスレベルを分類した。

① Pubmed の検索と分類

特定疾患の治療・介入と研究デザイン (Pubmed4 区分 Systematic review or Meta-analysis、Clinical trial、Cohort study、Case-control study) を規定する検索式を作成した。治療・介入の検索式により文献総数を確認した後、両者を組み合わせて疾患別研究デザイン別に文献をダウンロードした。

治療・介入の検索式

○○○/th[majr] AND Human[MeSH]  
(別表参照)

研究デザイン(Pubmed 4 区分)の検索式

Systematic review or Meta-analysis :  
(Meta-Analysis[pt] OR Cochrane Database  
Syst Rev[Jour])

Clinical trial : Clinical Trial[pt]

Cohort study : Cohort studies[MeSH]

Case-control study : Case control studies[MeSH]

文献検索とダウンロードは2003年12月から2004年1月にかけて行った。

ダウンロードした文献はEndNote7に保存し、Search references コマンドを用いた二次検索と標題・要旨の確認作業を行い、8つの研究デザインに再分類した。

**Systematic review with randomized controlled trials (SR with RCTs)** : Systematic review or Meta-analysis 群のうち、標題と要旨を読んでRCTのシステマティックレビューであることを確認し、他疾患に関する文献、不適切な研究デザイン、治療・介入以外の文献等を除いたもの。

**Other Systematic review(SR)** : Systematic review or Meta-analysis 群のうち、標題と要旨を読んでシステマティックレビューだがSR with RCTs でないことを確認し、他疾患に関する文献、不適切な研究デザイン、治療・介入以外の文献等を除いたもの。

**Randomized controlled trial(RCT)** : Clinical trial 群のうち、Title か Abstract に random 又は double-blind を含み、non-random を含まない文献を抽出したのうち、標題と要旨を読んで他疾患に関する文献、不適切な研究デザイン、治療・介入以外の文献等を除外したもの。

**Clinical trial** : Clinical trial 群のうちRCT以外の文献。

**Cohort study** : Cohort study 群のうち、Notes に Clinical trial を含まず、Keywords に Cohort を含む文献。

**Follow-up study** : Cohort study 群のうち Notes に Clinical trial を含まず、Keywords

に Cohort を含まない文献。

**Case-control study** : Case-control 群のうち Notes に Clinical trial を含まず、Keywords に Case-control を含む文献。

**Retrospective study** : Case-control 群のうち Notes に Clinical trial を含まず、Keywords に Case-control を含まない文献。

## ② 医中誌 ver.3 の検索と分類

特定疾患の治療・介入と研究デザイン(医中誌4区分 メタアナリシス、ランダム化比較試験、比較臨床試験、比較試験)を規定する検索式を作成した。治療・介入の検索式により文献総数を確認した後、両者を組み合わせて疾患別研究デザイン別(医中誌4区分)に文献をダウンロードした。

文献検索とダウンロードは2004年2月から3月にかけて行った。

### 治療・介入の検索式

〇〇〇/TH and (CK=ヒト) and ((SH=治療, 薬物療法, 外科的療法, 移植, 食事療法, 精神療法, 放射線療法) or (SH=リハビリテーション)) and (AB=Y PT=会議録除く) (別表参照)

### 研究デザイン(医中誌4区分)の検索式

メタアナリシス : (RD=メタアナリシス)

ランダム化比較試験 : (RD=ランダム化比較試験)

比較臨床試験 : (RD=比較臨床試験)

比較試験 : (RD=比較研究)

## ③ エビデンスレベル

治療・介入に関するエビデンスレベルは、Oxford Centre for Evidence Based Medicine の Level of Evidence(2001)を参考に5群に分類した。

I 群 : SR with RCTs で効果が検証された  
治療・介入がある疾患

II 群 : RCT 又は SR で効果が検証された  
治療・介入がある疾患

III 群 : Clinical trial で効果が検証された治  
療・介入がある疾患

IV 群 : Cohort study、Follow-up study、  
Case-control study、Retrospective  
study のいずれかで効果が検証され  
た治療・介入がある疾患

V 群 : I ~ IV 群に相当する治療・介入エ  
ビデンスがない疾患

エビデンスレベルは Pubmed の検索結果  
で判定した。医中誌 ver.3 の研究デザインタ  
グが 1999 年以降の文献にしか付与されて  
いないためである。ただし、医中誌 ver.3  
の検索結果がより高いレベルに該当すれば、  
エビデンスレベルを変更した。

## (2) 患者数の推移

難病情報センターホームページの特定疾  
患医療受給者証交付件数一覧表  
[http://www.nanbyou.or.jp/what/nan\\_kouhu1  
.htm](http://www.nanbyou.or.jp/what/nan_kouhu1.htm) から年次別疾患別特定疾患医療受給者  
証交付件数を求め、これを患者数とした。

## C. 研究結果

### (1) Pubmed 検索結果 (表 1)

45 群 54 疾患の治療・介入の文献総数  
(表 1 の Total) は 40,646 で、研究デザ  
イン別では、SR with RCTs 78, SR 28,  
RCT 1436, Clinical trial 3,396, Cohort  
study 146, Follow-up study 2,999,  
Case-control study 137, Retrospective  
study 877 だった (SR with RCTs, SR,  
RCT は標題と抄録で内容確認済)。

### (2) 医中誌 ver.3 検索結果 (表 2)

45 群 54 疾患の治療・介入に関する文献  
総数は 4,969 で、研究デザイン別では、  
メタアナリシス 0、ランダム化試験 16、比  
較臨床試験 3、比較研究 94 だった (標題  
と抄録は内容未確認)。

### (3) Pubmed と医中誌の文献総数比較

54 疾患について Pubmed と医中誌の文  
献総数 (表 1 の Total と表 2 の総数) を比  
較した。次の回帰式を得た。

医中誌文献総数 = 0.06 × Pubmed 文献  
総数 + 40.6 ( $r^2=0.55$   $P<0.0001$ )

医中誌文献総数が Pubmed よりも多か  
ったのは、スモン、後縦靭帯骨化症、重  
症急性膵炎、Pubmed の 1/20 以下だった  
のは、多発性硬化症、悪性関節リウマチ、  
アミロイドーシス、ハンチントン病、特  
発性間質性肺炎だった。

### (4) エビデンスレベル (表 3)

54 疾患の治療・介入に関するエビデン  
スを、B(1)③により I から V 群に分類した。  
平成 14 年度末患者数も表 3 に併記した。

I 群には、ベーチェット病、多発性硬化  
症、重症筋無力症など 13 疾患が分類された。  
SR with RCTs で検証された治療・介入が 1  
つ以上あり、複数の RCT 文献がある。患者  
総数は 303 千人、疾患当り 23 千人である。

II 群には、再生不良性貧血、強皮症、皮  
膚筋炎など 23 疾患が分類された。RCT に  
より効果が検証された治療・介入が 1 つ以  
上あり、複数の Clinical trial 文献がある。患  
者総数は 164 千人、疾患当り 7 千人である。

III 群には、大動脈炎症候群、悪性関節リ

ウマチ、大脳皮質基底核変性症など 11 疾患が分類された。Clinical Trial により効果が検証された治療・介入が 1 つ以上あり、その他の観察研究の文献もある。患者総数は 39 千人、疾患当り 3 千人である。

IV群には、シャイ・ドレーガー症候群、特発性大腿骨頭壊死症、混合性結合組織病の 3 疾患が分類された。Clinical trial 以外の観察研究で効果が検証された治療・介入が 1 つ以上ある。患者総数は 18 千人、疾患当り 6 千人である。

V群には、スモン、線条体黒質変性症、ゲルストマン・ストロイラー・シャインカー病、致死性家族性不眠症の 4 疾患が分類された。この群には I～IV群に相当する治療・介入のエビデンスがない。患者総数は 2 千人、疾患当り千人未満(5 百人)である。

医中誌 ver.3 の検索結果でエビデンスレベルを変更したのはモヤモヤ病 (Pubmed III群、医中誌 II群なので II群に変更) だけであった。

#### (5) 特定疾患指定後の患者数変化

平成 8 年度までに指定された 39 疾患について特定疾患治療研究事業指定年度と 5 年後の患者数を比較した。指定から 5 年で患者数は平均 5.1 倍に増加していた。

### D. 考察

#### (1) 特定疾患の治療・介入エビデンス

本研究により特定疾患すべて (45 群 54 疾患) の治療・介入に関するエビデンスの鳥瞰図が得られ、次の事実と課題が明らかになった。

① エビデンスレベルと疾患当り患者数には正の相関がある (表 3)。

SR with RCTs で検証された治療・介入のある I 群の疾患当り患者数は 22 千人だが、観察研究で検証された治療・介入すらない V 群では千人未満 (5 百人) だった。

② 指定後間もない希少難病にはシステマティックレビューや RCT による治療・介入エビデンスが乏しい。

V 群のうち線条体黒質変性症、ゲルストマン・ストロイラー・シャインカー病、致死性家族性不眠症の 3 疾患は平成 14 年度以降の指定である。これらの疾患には、今後の症例集積 (指定後 5 年で 5.1 倍になる) を待って研究が進展することが期待される。

③ 疾患当り患者数は多いが、RCT や Clinical trial により検証された治療・介入がない疾患がある。

Clinical trial 以外の観察研究によるエビデンスしかない IV 群の疾患当り患者数は 6 千人で、既に十分な症例が蓄積されている。有効性の確立した治療・介入がなければ、RCT などエビデンスレベル底上げのための研究体制を強化する必要がある。

この研究の限界は、検索した文献の一部 (Pubmed で検索したシステマティックレビューと RCT) を除いて標題と内容を吟味していないこと、レベルの高い治療・介入のエビデンスは有効性が実証された治療法があるための必要条件だが十分条件ではないこと、観察研究の研究主題は必ずしも治療の有効性でなく予後予測因子等のリスクファクターの場合もあることなどである。結果の解釈にあたってはこれらの限界に十

分注意しなければならない。今後、集積した文献の内容吟味を行い、エビデンスレベル判定の精度向上を図る予定である。

### (2) 特定疾患の治療・介入文献のデータベース

この研究では、特定疾患の治療・介入に関する文献を検索し、ダウンロードした文献を疾患別研究デザイン毎に整理した。その結果、特定疾患の治療・介入に関する文献データベースの原型が作成された。

日本語文献を含むデータベースが整備されれば、治療・介入の有効性の検証や、経済評価や難病対策評価のための資料収集が系統的に行える。QOL や介護負担に関する研究への支援も可能である。すでに一部の疾患では健康関連 QOL をエンドポイントとする RCT が行われている。

今後も必要に応じて検索式や研究デザイン分類を改善するなど、継続的なデータベースの更新と整備を検討して行く。

### (3) 今後の研究課題

疾病別、治療・介入別の経済評価も視野に入れた特定疾患治療研究事業の効率に関する研究を予定している。

## E. 結論

特定疾患治療研究事業の目的は、有効な治療を開発し、これを効率的に提供するシステムを構築することである。本研究により、効率的な医療提供体制を検討すべき疾患の候補（エビデンスレベル I、II 群）と、更に治療・介入の有効性を検討すべき疾患の候補（IV、V 群）とが明らかになった。

## F. 健康危険情報

なし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

なし

### 2. 学会発表

なし

## H. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

### 1. 特許取得

なし

### 2. 実用新案登録

なし

### 3. その他

なし

表1 Pubmed 検索結果とエビデンスレベル

No	疾患	Total	SR with RCTs	SR	RCT	Clinical trial	Cohort study	Follow-up study	Case-control Study	Retrospective study	エビデンスレベル
1	ベーチェット病	543	1	1	10	40	2	45	0	4	I
2	多発性硬化症	3666	13	8	226	524	22	161	20	34	I
3	重症筋無力症	1875	2	0	3	34	0	66	0	20	I
4	全身性エリテマトーデス	2330	1	1	71	204	27	147	11	71	I
5	スモン	11	0	0	0	0	0	0	0	0	V
6	再生不良性貧血	2220	0	0	37	133	13	146	4	48	II
7	サルコイドーシス	924	3	0	15	49	0	73	0	17	I
8	筋萎縮性側索硬化症	750	4	0	48	76	4	17	2	13	I
9	強皮症/皮膚筋炎及び多発性筋炎										
9.1	強皮症	962	0	1	38	110	1	32	4	10	II
9.2	皮膚筋炎	519	0	0	3	29	0	45	2	21	II
10	特発性血小板減少症	765	0	0	17	79	3	58	2	53	II
11	結節性動脈周囲炎	237	0	0	10	8	0	17	0	5	II
12	潰瘍性大腸炎	3718	7	2	225	255	11	422	22	114	I
13	大動脈炎症候群	283	0	0	0	5	1	43	0	16	III
14	ピュルガー病	334	0	0	1	10	0	43	1	8	II
15	天疱瘡	571	0	0	1	3	0	9	1	2	II
16	脊髄小脳変性症	117	0	0	6	24	0	7	0	1	II
17	クローン病	3791	19	3	194	269	22	466	21	150	I
18	劇症肝炎	382	0	0	1	15	1	9	0	6	II
19	悪性関節リウマチ	137	0	0	0	1	1	0	0	1	III
20	パーキンソン病関連疾患										
20.1	進行性核上麻痺	62	0	0	4	7	0	2	0	1	II
20.2	大脳皮質基底核変性症	8	0	0	0	1	0	0	0	0	III
20.3	パーキンソン病	7475	19	9	318	953	15	408	23	77	I
21	アミロイドーシス	747	0	0	6	31	0	58	0	16	II
22	後縦靭帯骨化症	63	0	0	0	5	0	13	0	7	III
23	ハンチントン病	472	0	0	21	69	0	11	0	0	II
24	モヤモヤ病	226	0	0	0	7	0	42	1	7	II
25	ウェゲナー肉芽腫症	470	0	0	4	22	3	37	0	19	II
26	特発性拡張型心筋症	275	0	1	30	39	2	52	4	5	II
27	多系統萎縮症										
27.1	線条体黒質変性症	1	0	0	0	0	0	0	0	0	V
27.2	オリブ橋小脳萎縮症	13	0	0	2	4	0	0	1	0	II
27.3	シャイドレーガー症候群	36	0	0	0	0	0	3	0	0	IV
28	剥皮水疱症	60	0	0	1	0	0	3	0	3	II
29	膿疱性乾癬	17	0	0	0	3	0	5	0	2	III
30	広範脊柱管狭窄症	77	0	0	0	2	1	21	0	6	III
31	原発性胆汁性肝硬変	534	2	1	61	66	2	40	3	11	I
32	重症急性膵炎	187	3	0	31	13	0	29	1	23	I
33	特発性大腿骨頭壊死症	101	0	0	0	0	0	44	1	5	IV
34	混合性結合組織病	56	0	0	0	0	0	3	0	0	IV
35	原発性免疫不全症候群	1944	0	0	18	110	5	76	7	22	II
36	特発性間質性肺炎	383	2	1	6	20	4	35	1	19	I
37	網膜色素変性症	187	0	0	4	22	0	15	0	0	II
38	プリオン病										
38.1	クロイツフェルト・ヤコブ病	233	0	0	0	1	0	3	0	2	III
38.2	ゲルストマン・ストロイラー・シャインカー病	0	0	0	0	0	0	0	0	0	V
38.3	致死性家族性不眠症	0	0	0	0	0	0	0	0	0	V
39	原発性肺高血圧症	638	2	0	14	60	2	39	1	16	I
40	神経線維腫症 I 型/II 型										
40.1	神経線維腫症 I 型	260	0	0	0	3	1	37	0	4	III
40.2	神経線維腫症 II 型	69	0	0	0	2	0	13	0	5	III
41	亜急性硬化性全脳炎	139	0	0	2	17	0	11	0	0	II
42	バット・キアリ症候群	457	0	0	0	6	0	88	1	18	III
43	特発性慢性肺血栓塞栓症(肺高血圧型)	157	0	0	0	8	1	14	0	4	III
44	ライソゾーム病										
44.1	ライソゾーム病(ファブリー病を除く)	923	0	0	2	41	2	76	3	10	II
44.2	ライソゾーム病(ファブリー病)	120	0	0	5	4	0	6	0	0	II
45	副腎白質ジストロフィー	121	0	0	1	12	0	9	0	1	II

表2 医中誌 ver.3 検索結果と平成14年度末患者数

No	疾患	総数	メタアナリシス	ランダム化試験	比較臨床試験	比較研究	H14年度末患者数
1	ベーチェット病	142	0	1	0	4	16834
2	多発性硬化症	66	0	0	0	0	10101
3	重症筋無力症	161	0	0	0	3	13785
4	全身性エリテマトーデス	329	0	0	0	1	52452
5	スモン	12	0	0	0	0	2062
6	再生不良性貧血	176	0	0	0	2	10593
7	サルコイドーシス	153	0	0	0	1	21334
8	筋萎縮性側索硬化症	120	0	0	0	1	6646
9	強皮症／皮膚筋炎及び多発性筋炎						31568
9.1	強皮症	131	0	0	0	1	
9.2	皮膚筋炎	153	0	0	0	2	
10	特発性血小板減少症	158	0	1	0	4	31429
11	結節性動脈周囲炎	55	0	0	0	1	3749
12	潰瘍性大腸炎	363	0	3	0	12	77073
13	大動脈炎症候群	92	0	0	0	1	5378
14	ピュルガー病	65	0	0	0	0	9758
15	天疱瘡	71	0	0	0	0	3481
16	脊髄小脳変性症	92	0	2	1	1	23483
17	クローン病	337	0	2	0	6	22010
18	劇症肝炎	92	0	0	0	0	366
19	悪性関節リウマチ	2	0	0	0	0	5304
20	パーキンソン病関連疾患						
20.1	進行性核上麻痺	25	0	0	0	0	
20.2	大脳皮質基底核変性症	3	0	0	0	0	
20.3	パーキンソン病	492	0	1	2	16	66041
21	アミロイドーシス	8	0	0	0	0	948
22	後縦靭帯骨化症	272	0	0	0	17	22146
23	ハンチントン病	3	0	0	0	0	645
24	モヤモヤ病	134	0	1	0	3	9669
25	ウェゲナー肉芽腫症	51	0	0	0	0	989
26	特発性拡張型心筋症	15	0	0	0	0	14500
27	多系統萎縮症						
27.1	線条体黒質変性症	0	0	0	0	0	
27.2	オリブ橋小脳萎縮症	4	0	0	0	1	
27.3	シャイ・ドレーガー症候群	10	0	0	0	0	779
28	表皮水疱症	5	0	0	0	0	339
29	膿疱性乾癬	9	0	0	0	0	1338
30	広範脊柱管狭窄症	8	0	0	0	0	2119
31	原発性胆汁性肝硬変	72	0	3	0	1	11937
32	重症急性膵炎	317	0	1	0	9	1277
33	特発性大腿骨頭壊死症	89	0	0	0	2	10981
34	混合性結合組織病	33	0	0	0	0	6602
35	原発性免疫不全症候群	42	0	0	0	0	1158
36	特発性間質性肺炎	4	0	0	0	0	3482
37	網膜色素変性症	22	0	0	0	0	21830
38	プリオン病						280
38.1	クロイツフェルト・ヤコブ病	29	0	0	0	0	
38.2	ゲルストマン・ストロイラー・シャインカー病	0	0	0	0	0	
38.3	致死性家族性不眠症	0	0	0	0	0	
39	原発性肺高血圧症	107	0	1	0	2	637
40	神経線維腫症Ⅰ型／Ⅱ型						1800
40.1	神経線維腫症Ⅰ型	28	0	0	0	0	
40.2	神経線維腫症Ⅱ型	6	0	0	0	0	
41	亜急性硬化性全脳炎	19	0	0	0	0	101
42	バット・キアリ症候群	12	0	0	0	0	186
43	特発性慢性肺血栓塞栓症(肺高血圧型)	41	0	0	0	3	464
44	ライソゾーム病						263
44.1	ライソゾーム病(ファブリー病を除く)	47	0	0	0	0	
44.2	ライソゾーム病(ファブリー病)	10	0	0	0	0	
45	副腎白質ジストロフィー	9	0	0	0	0	107



表3 エビデンスレベル

群	疾患数	患者総数 (千人)	疾患当り 患者数 (千人)	疾患名
I	13	303	23	ベーチェット病、多発性硬化症、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、筋萎縮性側索硬化症、潰瘍性大腸炎、クローン病、パーキンソン病、原発性胆汁性肝硬変、重症急性膵炎、特発性間質性肺炎、原発性肺高血圧症
II	23	164	7	再生不良性貧血、強皮症、皮膚筋炎、特発性血小板減少症、結節性動脈周囲炎、ピュルガー病、天疱瘡、脊髄小脳変性症、劇症肝炎、進行性核上麻痺、アミロイドーシス、ハンチントン病、モヤモヤ病、ウェゲナー肉芽腫症、特発性拡張型心筋症、オリーブ橋小脳萎縮症、表皮水疱症、原発性免疫不全症候群、網膜色素変性症、亜急性硬化性全脳炎、ライソゾーム病(ファブリー病を除く)、ライソゾーム病(ファブリー病)、副腎白質ジストロフィー
III	11	39	3	大動脈炎症候群、悪性関節リウマチ、大脳皮質基底核変性症、後縦靭帯骨化症、膿疱性乾癬、広範脊柱管狭窄症、クロイツフェルト・ヤコブ病、神経線維腫症Ⅰ型、神経線維腫症Ⅱ型、バット・キアリ症候群、特発性慢性肺血栓栓症(肺高血圧型)
IV	3	18	6	シャイ・ドレーガー症候群、特発性大腿骨頭壊死症、混合性結合組織病
V	4	2	<1	スモン、線条体黒質変性症、ゲルストマン・ストロイラー・シャインカー病、致死性家族性不眠症

## 別表 治療・介入の検索式

Pubmed と医中誌 ver.3 の疾患検索式を示す。

疾患検索式と下記の限定子を and で結合したものが「治療・介入の検索式」である。これを用いた検索にヒットした文献数が「治療・介入の文献総数」である。

### 限定子

Pubmed: Human[MeSH]

医中誌 ver.3 : (CK=ヒト) and ((SH=治療, 薬物療法, 外科的療法, 移植, 食事療法, 精神療法, 放射線療法) or (SH=リハビリテーション)) and (AB=Y PT=会議録除く)

### 01 ベーチェット病

Behcet syndrome/th[majr] 、Behcet 症候群/TH

### 02 多発性硬化症

(Multiple sclerosis/th[majr] OR ("Concentric Sclerosis"[tiab] OR Balo[tiab]) AND Therapeutics[majr]))

(多発性硬化症/TH or 視神経脊髄炎/TH or 脳硬化症-びまん性/TH)

### 03 重症筋無力症

Myasthenia gravis/th[majr:noexp] 、(重症筋無力症/TH not 重症筋無力症-先天性/TH)

### 04 全身性エリテマトーデス

Systemic lupus erythematosus/th[majr]、エリテマトーデス-全身性/TH

### 05 スモン

(Subacute myelo-optico-neuropathy[tiab] OR SMON[tiab] ) AND Therapeutics[majr]、(SMON/TH or SMON/AL)

### 06 再生不良性貧血

Aplastic anemia/th[majr] 、貧血-再生不良性/TH

### 07 サルコイドーシス

Sarcoidosis/th[majr] 、(サルコイドーシス/TH or サルコイドーシス-肺/TH or サルコイドーシス-神経/TH or サルコイドーシス-皮膚/TH or サルコイドーシス-心臓/TH or サルコイドーシス-眼/TH or サルコイドーシス-喉頭/TH)

### 08 筋萎縮性側索硬化症

Amyotrophic lateral sclerosis/th[majr]、筋萎縮性側索硬化症/TH

### 09.1 強皮症

Systemic scleroderma/th[majr]、強皮症-全身性/TH

### 09.2 皮膚筋炎及び多発性筋炎

Polymyositis/th[majr]、筋炎-多発性/TH

10 特発性血小板減少性紫斑病

Idiopathic thrombocytopenic purpura/th[majr]、紫斑病-特発性血小板減少性/TH

11 結節性動脈周囲炎

Polyarteritis nodosa/th[majr]、多発動脈炎-結節性/TH

12 潰瘍性大腸炎

Ulcerative colitis/th[majr]、(大腸炎-潰瘍性/TH not(腸炎-シチメンチヨウ感染性/TH or ネコ汎白血球減少症/TH) not 大腸炎-虚血性/TH not Crohn 病/TH)

13 大動脈炎症候群

Takayasu syndrome/th[majr]、大動脈炎症候群/TH

14 ビュルガー病

Buerger disease/th[majr]、血栓血管炎-閉塞性/TH

15 天疱瘡

Pemphigus/th [majr:noexp]、(天疱瘡/TH not 天疱瘡-良性家族性/TH)

16 脊髄小脳変性症

(Spinocerebellar degenerations/th[majr] NOT Olivopontocerebellar atrophy [MeSH] OR Dentatorubral pallidoluysian atrophy/th[majr] OR (Ataxia/th[majr] AND Vitamin e deficiency[MeSH]) OR ((aprataxin[tiab] OR Early-onset ataxia with ocular motor apraxia and hypoalbuminemia) AND Therapeutics[majr]) OR Hereditary spastic paraplegia/th[majr])、脊髄小脳変性症/TH

17 クローン病

Crohn disease/th[majr]、Crohn 病/TH

18 難治性肝炎のうち劇症肝炎

((Fulminant liver failure[MeSH] OR Fulminant[ti] OR Fulminating[ti]) AND (Hepatitis/th[majr] NOT (Alcoholic hepatitis[MeSH] OR Chronic hepatitis[MeSH] OR Liver cirrhosis[MeSH])))、肝炎-劇症/TH

19 悪性関節リウマチ

Rheumatoid arthritis/th[majr:noexp] AND (Vascular disease[MeSH] OR malignant[tiab] OR MRA[tiab])

((関節リウマチ/TH and (系統的血管炎/AL or 多臓器不全/TH or 多臓器障害/AL)) or (難治性/AL and 関節外症状/AL))

20.1 進行性核上性麻痺

Progressive supranuclear palsy/th[majr]、核上性麻痺-進行性/TH

20.2 大脳皮質基底核変性症

(Corticobasal degeneration[tiab] OR Tauopathy[MeSH:noexp]) AND Therapeutics[MeSH]、大脳皮質基底核変性症/TH

20.3 パーキンソン病

- Parkinson disease/th[majr] 、 Parkinson 病/TH
- 21 アミロイドーシス  
(Amyloidosis/th [majr] NOT (Rheumatoid arthritis[MeSH] OR Inflammatory bowel diseases[MeSH] OR Tuberculosis[MeSH] OR Bronchiectasis[MeSH] OR secondary AA-amyloidosis[tiab]))  
(アミロイドーシス/TH or アミロイドーシス/AL) and (Immunoglobulins/TH or 免疫グロブリン/AL or 老人性 TTR 型/AL or (Prealbumin/TH or Prealbumin/AL) )
- 22 後縦靭帯骨化症  
Ossification of posterior longitudinal ligament/ th[majr] 、 後縦靭帯骨化症/TH
- 23 ハンチントン病  
Huntington disease/th [majr] 、 Huntington 病/TH
- 24 モヤモヤ病(ウィリス動脈輪閉塞症)  
(Moyamoya disease/th [majr] NOT (Autoimmune diseases[MeSH] OR Meningitis[MeSH] OR Brain tumor[MeSH] OR Down syndrome[MeSH] OR Neurofibromatosis[MeSH] OR Craniocerebral trauma[MeSH] OR Radiotherapy[MeSH] OR Sickle cell anemia[MeSH] OR Intracranial arteriosclerosis[MeSH] OR secondary [ti])) 、 もやもや病/TH
- 25 ウェゲナー肉芽腫症  
Wegener granulomatosis/th [majr] 、 Wegener 肉芽腫症/TH
- 26 特発性拡張型(うっ血型)心筋症  
Dilated cardiomyopathy/th [majr] AND idiopathic[tiab] 、 (心筋症-拡張型/TH and 特発性/AL)
- 27.1 線条体黒質変性症  
Striatonigral degeneration/th [majr] 、 線条体黒質変性/TH
- 27.2 オリーブ橋小脳萎縮症  
Olivopontocerebellar atrophy/th [majr] 、 オリーブ橋小脳萎縮症/TH
- 27.3 シャイ・ドレーガー症候群  
Shy drager syndrome/th [majr] 、 Shy-Drager 症候群/TH
- 28 表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)  
(Epidermolysis bullosa, junctional/th[majr] OR Epidermolysis bullosa, dystrophic/th[majr]) 、 (表皮水疱症-栄養障害性/TH or 表皮水疱症-接合部型/TH)
- 29 膿疱性乾癬  
generalized[tiab] AND pustular[tiab] AND psoriasis/th[majr] 、 (乾癬-膿疱性/TH and 汎発性/AL)
- 30 広範脊柱管狭窄症  
Spinal stenosis/th[majr] AND (Spinal cord compression[MeSH] OR Radiculopathy[MeSH] OR Cauda equina syndrome[MeSH] ) 、 (脊柱管狭窄/TH and 脊髄神経根/TH)

### 31 原發性胆汁性肝硬變

Primary[tiab] AND Biliary cirrhosis/th[majr] NOT asymptomatic[tiab] 、(肝硬變-胆汁性/TH not 無症候性/AL)

### 32 重症急性膵炎

("severe acute "[tiab] OR "acute severe"[tiab]) AND pancreatitis/th[majr] 、((重症/AL or 急性/AL) and 膵炎/TH)

### 33 特發性大腿骨頭壞死症

Avascular necrosis of femur head/th[majr] AND idiopathic[tiab] 、(特發性/AL and 大腿骨頭壞死/TH)

### 34 混合性結合組織病

Mixed connective tissue disease/th [majr] 、混合性結合組織病/TH

### 35 原發性免疫不全症候群

(Immunologic Deficiency Syndromes/th[majr] NOT HIV Infections[MeSH] NOT Deltaretrovirus Infections[MeSH] NOT Aleutian Mink Disease[MeSH] OR ((Adenosine Deaminase/deficiency[MeSH] OR X-linked hyper-IgM syndrome[tiab] OR ZAP-70 deficiency OR hyper-IgM syndrome NOT X-linked OR "Nijmegen breakage syndrome"[tiab] OR Neutropenia/congenital[MeSH] OR Cyclic neutropenia[tiab] OR Myeloperoxidase deficiency[tiab]) AND Therapeutics[majr]) OR (X-linked[tiab] AND Lymphoproliferative disorder/th[majr]) OR (Complement/deficiency[MeSH] AND Immunologic Deficiency Syndromes/th[majr]) OR (Neutrophil[MeSH] AND granule[tiab] AND immunodeficiency syndromes/th[majr]) OR (Glucosephosphate Dehydrogenase Deficiency/th[majr] AND Neutrophil[MeSH]) OR Chronic mucocutaneous candidiasis/th[majr])

((重症複合免疫不全症/TH or アデノシンデアミナーゼ欠損症/TH or Omenn 症候群/TH or X連鎖高IgM 症候群/AL or プリンヌクレオシドホスホリラーゼ欠損症/AL or (Bare/AL and (リンパ球/TH or Lymphocyte/AL) and (症候群/TH or syndrome/AL)) or ZAP-70 欠損症/AL) or (抗体產生不全症/AL or (X連鎖無/AL and  $\gamma$ /AL and グロブリン血症/AL) or (常染色体劣性無/AL and  $\gamma$ /AL and グロブリン血症/AL) or IgG サブクラス欠損症/AL or IgA 欠損症/TH or 分類不能型免疫不全症/TH or 非X連鎖高IgM 症候群/AL or (乳児一過性低 $\gamma$ /AL and グロブリン血症/AL)) or (Wiskott-Aldrich 症候群/TH or 毛細血管拡張性小脳失調症/AL or "Nijmegen Breakage 症候群"/TH or DiGeorge 症候群/TH or 色素欠乏/AL and 免疫不全症/AL or X連鎖リンパ増殖症候群/AL) or 補体欠損症/TH or (食細胞機能不全症/AL or 重症先天性好中球減少症/AL or 周期性好中球減少症/AL or 白血球接着不全症候群/TH or 二次顆粒欠損症/AL or 肉芽腫症-慢性/TH or 好中球G6D欠損症/AL or Peroxidase/TH or ((白血球/TH or 白血球/AL) and (Mycobacterium/TH or マイコバクテリウム/AL) and 殺菌能障害/AL) ) or (Job 症候群/TH or カンジダ症-慢性皮膚粘膜/TH))

### 36 特發性間質性肺炎

Interstitial pneumonia/th[majr] AND (idiopathic[tiab] OR nonspecific[ti] OR acute[ti] OR cryptogenic[ti] OR desquamative[ti] OR bronchiolitis[ti] OR lymphocyte[ti])

(特発性肺線維症/AL or 非特異性間質性肺炎/AL or 急性間質性肺炎/AL or 特発性器質化肺炎/AL or 剥離性間質性肺炎/AL or 呼吸細気管支炎関連性間質性肺炎/AL or 肺炎-リンパ球性間質性/TH)

### 37 網膜色素変性症

Retinitis pigmentosa/th [majr] 、(網膜色素変性症/TH not 炎症性/AL not 続発性/AL)

#### 38.1 クロイツフェルト・ヤコブ病

Creutzfeldt jakob disease/th [majr] 、Creutzfeldt-Jakob 病/TH

#### 38.2 ゲルストマン・ストロイスラー・シャインカー病

Gerstmann straussler scheinker disease [majr] AND Therapeutics[MeSH] 、Gerstmann-Straussler-Scheinker 症候群/TH

#### 38.3 致死性家族性不眠症

Fatal familial insomnia[majr] AND Therapeutics[MeSH] 、致死性家族性不眠症/AL

### 39 原発性肺高血圧症

Primary[tiab] AND Pulmonary hypertension/th[majr]、@肺高血圧症/TH and 原発性/AL

#### 40.1 神経線維腫症 I 型

Neurofibromatosis 1/th[majr] 、神経線維腫症 1 型/TH

#### 40.2 神経線維腫症 II 型

Neurofibromatosis 2/th[majr] 、神経線維腫症 2 型/TH

### 41 亜急性硬化性全脳炎

Subacute sclerosing panencephalitis/th[majr] 、全脳炎-亜急性硬化性/TH

### 42 バット・キアリ (Budd-Chiari) 症候群

Budd chiari syndrome/th[majr] 、(バット・キアリ/AL or (@門脈圧亢進症/TH and (閉塞/AL or 狭窄/AL)))

### 43 特発性慢性肺血栓栓症 (肺高血圧型)

((Pulmonary hypertension/th[majr] AND (Pulmonary embolism[MeSH] OR Thromboembolism[MeSH])) OR (CTEPH[tiab] AND Therapeutics[majr]))、肺血栓症/TH and 肺高血圧症/TH

#### 44.1 ライソゾーム病 (ファブリー病を除く)

((Lysosomal storage diseases/th[majr] NOT (Cholesterol Ester Storage Disease[MeSH] OR Fabry Disease[MeSH])) OR Neuronal ceroid lipofuscinosis/th[majr] OR (Aspartylglucosaminuria[tiab] AND Therapeutics[majr]) OR (Kanzaki[tiab] AND Therapeutics[majr]) OR (Danon[tiab] AND Therapeutics[majr]))

リソゾーム蓄積症/TH not Fabry 病/TH

#### 44.2 ライソゾーム病(ファブリー病)

Fabry disease/th[majr]、Fabry 病/TH

45 副腎白質ジストロフィー

Adrenoleukodystrophy/th[majr]、副腎白質ジストロフィー/TH

## V 平成15年度研究発表会



## 厚生労働科学研究 難治性疾患克服研究事業

「特定疾患のアウトカム研究：QOL、介護負担、経済評価」班

### 平成 15 年度研究発表会

主任研究者 福原 俊一

日時 : 平成 16 年 2 月 28 日 (土) 9 時半～16 時半

場所 : 東京大学鉄門記念講堂 (医学部教育研究棟 14 階)  
東京都文京区本郷 7-3-1

## < プ ロ グ ラ ム >

開会挨拶 主任研究者 福原俊一 9:30-9:35

厚生労働省挨拶 健康局疾病対策課課長補佐 菊岡修一 9:35-9:40

### 演題発表

#### I 9:40-10:20 QOL 測定・疫学研究

座長：京都大学医学研究科 医療疫学 福原俊一

1. Behcet 病患者における口腔関連 QOL 研究 9:40-9:50  
京都大学大学院医学研究科 健康情報学 内藤真理子
2. 拡張型心筋症患者の QOL：臨床的要因、心理的適応状態との関連 9:50-10:00  
京都大学大学院医学研究科 健康情報学 中山健夫
3. QOL 尺度に対する項目応答理論モデルの適用—Rasch model と 2パラメータ・ロジスティック・モデルの比較— 10:00-10:10  
名古屋大学大学院教育発達科学研究科心理社会行動科学 野口裕之
4. 頸部脊髄症患者の Quality of Life —経過報告— 10:10-10:20  
特定非営利活動法人(NPO)健康医療評価研究機構 高橋奈津子、他

休憩 10:20-10:30

#### II 10:30-11:05 介入研究

座長：東京大学医学系研究科 疫学・生物統計学 大橋靖雄

5. 加齢黄斑症 (ARM) の読書困難に対するロービジョンケア前後の QOL 評価 10:30-10:40  
流通科学大学サービス産業学部 医療福祉サービス学科 下妻晃二郎、他
6. 「加齢黄斑症の読書困難に対するロービジョンケア前後の QOL 評価」におけるレスポンスシフト (Response shift) 研究 10:40-10:50  
特定非営利活動法人(NPO)健康医療評価研究機構 高橋奈津子、他
7. 両眼黄斑部に萎縮病巣を有する患者が異なったサイズの縦書きと横書きの日本語文を読む時の固視点-研究の目的と背景- 10:50-11:05  
駿河台日本大学病院 眼科 松本容子、他

休憩 11:05-11:15

### Ⅲ 11:15-11:55 介護負担感

座長：京都大学医学研究科 医療疫学 鈴鴨よしみ

8. 在宅療養中の特定疾患患者を介護する家族の負担感に影響する生活状況  
健和会臨床看護学研究所 那須実千代、他 11:15-11:25
9. 三重県神経難病縦断データによる介護負担感の経時推移の検討 11:25-11:35  
東京大学医学系研究科 精神看護学 山口亜紀、他
10. 人工透析患者の介護者の負担感に関する質的研究 11:35-11:45  
東京大学医学部健康科学・看護学科 山口桜、他
11. 介護負担の普遍性と疾患による特異性—ALS, SMI、パーキンソン病、  
脳血管疾患、透析患者を介護する家族について— 11:45-11:55  
東京大学医学研究科 精神看護学 萱間真美、他

### < 昼休み (班員打ち合わせ会議 \* 教育研究棟 13 階セミナー室) > 12:00-13:20

\* あらかじめメールでご出席をお願いした班員の方のみのご出席をお願い致します。

### Ⅳ 13:20-14:00 生理的要因と QOL

座長：京都大学医学研究科 健康情報学 中山健夫

12. 閉塞型睡眠時無呼吸低呼吸症候群患者における nCPAP 療法の使用時間の変化  
13:20-13:30  
京都大学医学部附属病院 理学療法部・呼吸器内科(呼吸不全班) 陳和夫、他
13. 睡眠時無呼吸症候群を中心とした睡眠呼吸障害のスクリーニングツール開発  
に向けての試み 13:30-13:40  
京都大学医学研究科 医療疫学分野 竹上未紗、他
14. 睡眠と健康に関するアウトカム研究 13:40-13:50  
京都大学医学研究科 角谷寛、他
15. 市民健診における習慣性いびきと高血圧、脳卒中既往の関係 13:50-14:00  
守口市市民保健センター 辻久子、他
- 休憩 14:00-14:10

### V 14:10-15:10 医療倫理

座長：三重大学医学部 神経内科 (神経変性疾患班) 成田有吾

16. 医療における意思決定と生活の質 (Quality of life) についての質的研究  
14:10-14:20  
京都大学大学院医学研究科 医療倫理学 浅井篤、他

17. 重症患者ケアにおける医療者の侵襲的医療行為についての判断、および患者側との説明・協議プロセスについての研究 14:20-14:30  
国立病院東京医療センター 尾藤誠司、他
18. 特定疾患（難病）に対する政策決定の基底にある倫理原則に関する研究 14:30-14:40  
宮崎医科大学医学部 板井孝彦郎  
青森保健所・青森健康福祉部健康医療課 大西基喜
19. 透析非導入・中断に関するガイドライン作成に向けた研究 14:40-14:50  
東京慈恵会医科大学腎臓・高血圧内科 三浦靖彦、他
20. 神経難病者による闘病記の比較研究 14:50-15:00  
文部科学省初等中等教育局 正野泰周、他
21. 医療倫理からみた重症疾患の診療ガイドライン 15:00-15:10  
京都大学大学院医学研究科 医療倫理学 浅井篤、他
- 休憩 15:10-15:20

#### VI 15:20-16:00 経済評価、他

座長：流通科学大学サービス産業学部 医療福祉サービス学科 下妻晃二郎

22. 慢性閉塞性肺疾患患者に対する在宅酸素療法の費用対効果 15:20-15:30  
京都大学大学院医学研究科 臨床疫学 新保卓郎
23. 特定疾患の治療・介入に関するエビデンスの評価 15:30-15:40  
京都大学大学院医学研究科 健康情報学分野 齋藤剛
24. 特定疾患のリハビリテーションにおけるコーチング技術を用いた tele-therapy 15:40-15:50  
東北大学大学院医学系研究科肢体不自由学分野 出江紳一、他
25. 定期的な運動が健康関連 QOL、医療資源消費に与える影響 15:50-16:00  
京都大学大学院医学研究科 臨床疫学 森本剛、他

まとめ・閉会挨拶 主任研究者

福原俊一

16:00-16:30