

関わる包括的なガイドラインの策定について、本研究グループの今後の展開に期待したいところである。

全体を通してこの評価法による評価は評価者間で概ね一致しており、この評価が公正な評価に適した評価法であることが示された。引き続きこの評価方法を継続すると同時に、さらに多人数での評価を行うなどして、本研究事業の改善・発展が期待できると考えられる。

## E. 結論

- (1) 難治性疾患克服研究事業の研究課題として、副腎ホルモン産生異常はその要素を備えている。
- (2) しかし、その内容については基礎的研究の臨床的有効性が不明瞭な感が否めなかったため、研究の方向性について再考し、さらに応用領域への発展性がある研究が要求されると考えられた。

## F. 健康危険情報

とくに該当なし

## 難治性疾患克服研究の評価

### ならびに研究の方向性に関する研究

#### 「中枢性摂食異常症に関する調査研究」

**研究要旨** 難治性疾患克服研究事業の研究班のうち、中枢性摂食異常症に関する調査研究について評価を行った。今回この疾患を研究する意義や重要性、本事業の主題に合致しているか、臨床的意義、診断、治療、予防への応用性、今後の研究の将来性などについて検討した。大きく研究事業全体に関連した項目、個々の研究課題についての項目、さらに個々の課題、研究発表等に関する評価の三項目について評価する評価法に基づき、内科系専門医3名の協力を得て、加算形式で評価を行った。その結果、基礎的研究の中に臨床的有効性が明確でないものがよく認められ、全体として協力して研究を行うことで統一性を持たせる必要性のあることが明らかとなった。基礎研究と患者を対象とした研究で得られた知見との間に隔たりがあり、研究の方向性について今後の検討の必要があると結論付けられた。

#### A. 研究目的

わが国の文化・社会構造の変化とともに中枢性摂食異常症患者は増加し、病像にも変化が生じ、患者数の重症化、発症の低年齢化をもたらした。未だ病因・病態の不明瞭な本症は、有効な治療法や予防法の早急な開発が望まれており、難治性疾患克服研究の対象となる要素を持っていると考えられる。

しかし、中枢性摂食異常症に関する各々の研究が、難治性疾患克服研究の主題である患者の経済的救済、患者の予後やQOLの改善、さらに国の医療行政に貢献に合致しているかどうかを

逐次評価し、研究の方向性について見直す機会が必要である。この場合、各研究に対する公正で正確な評価が行われるということが要求される。

そこで本研究では、一定の評価法に基づいて、平成16年度までの中枢性摂食異常症に関する調査研究について評価を行い、評価法の評価も踏まえて結果の検討を行った。なお評価については3名からなる内科系専門医の評価の平均点を評価点とした。

#### B. 研究方法

(1) 評価項目をI. 研究事業全体と関

連した項目、Ⅱ. 個々の研究課題についての項目、Ⅲ. 個々の課題、研究発表等に関する評価、の3つに分けて、それぞれの項目をさらに細分化し、一つ2点満点として評価した。Ⅰは計22点、Ⅱは20点、Ⅲは8点満点とした。

- (2) それぞれの項目について、内科系専門医3名による評価の平均点を記載した。
- (3) 原因ならびに発症機序の解明状況については、0点：原因・発症機序に基づく予防・治療法がある、1点：治療に役立つ原因・発症機序の解明がなされつつある、2点：罹患傾向と発症機序が判明しつつあるが、治療法がない、3点：発症機序及び治療法の解明がほとんど進んでいない、の4段階で評価した。
- (4) 予防・治療法の確立状況については、0点：大多数の症例に適用できる予防法・根治療法、あるいはADLを効果的に改善する治療法が確立している、1点：ADLを効果的に改善する治療法（病勢の進行を阻止する治療を含む）が確立している、あるいは大多数の症例に適用できる予防法・根治療法が確立されつつある、2点：ADLをある程度改善する治療法（病勢の進行を遅延させる治療を含む）が確立しているが、大多数の症例に適用できる予防法・根治療法は確立していない、3点：予防法、根治療法のみならず、ADLを有意に

改善する治療法も確立していない、の4段階で評価した。

## C. 研究結果

### I. 研究事業全体と関連した項目について

分子遺伝学的手法に基づく病態の解明や、本邦における疾病の実態調査については高く評価された。一方、基礎的な研究と臨床研究の間に隔たりがあり、これをつなぐような研究の実現が期待された。その中でグレリンは基礎的研究と臨床的研究の双方がなされ、今後の展開に興味をもたれる。また中枢性摂食異常症について、日本独自の診断や治療のガイドライン策定を目指して欲しいという要求があった。

原因ならびに発症機序の解明状況：本難治性疾患克服研究事業の研究内容や学術論文および教科書的情報を総合的に勘案すると、中枢性摂食異常症は上記4段階評価の2点であると考えられた。

予防・治療法の確立状況については本難治性疾患克服研究事業の研究内容や学術論文および教科書的情報を総合的に勘案すると、中枢性摂食異常症は上記4段階評価の3点であると考えられた。

### Ⅱ. 個々の研究課題についての項目

いずれの研究も内容は充実しており、評価に十分値する。しかし、特に基礎的研究において、すぐに応用に結びつきにくい研究が散見された。臨床的研究や薬剤開発など、すぐに応用可

能な研究も行われているので、この基礎的研究と応用研究を結ぶような研究を行い、全体の統一性を保ちながら、応用の領域に研究の軸足を移すように各評価者から提案があった。

### Ⅲ. 個々の課題、研究発表等に関する評価

いずれの研究においても質の高い論文や学会での発表が行われており、積極的に研究が進められている。しかし幾つかの論文で本事業の補助金について記載が無い場合が認められた。今後周知徹底を図っていただきたい。いずれの評価者による評価でも、評価に大きな違いは認められず、この評価方法が公正な評価に耐える評価法であるということが示された。

### D. 考察

難治性疾患克服研究事業は、本来原因不明でその治療法が確立しておらず、かつ患者数が少ない疾患を対象とする。研究によって、患者の経済的救済を行うと同時に、その病因を解明して治療法を開発することで患者の予後やQOLの改善を目指し、さらに国の医療行政に貢献することを目的とする。中枢性摂食異常症は患者数が増加しており、重症化や発症の低年齢化が報告される一方で、有効な治療法や予防法が未だ確立していないという点で、本研究事業の要素を持っていると言える。

しかし、今回の評価法を用いて詳細に評価を行ってみると、本症の病因、病態の解明といった基礎的研究と、本

章患者の病像解析のための実態調査といった臨床的研究の間に隔たりがあり、全体を通してすぐに患者のQOL改善や国の医療行政に貢献するような研究が行われているとは言い難い。基礎的研究で蓄積された知見を、今後はより応用面を充実させるような研究が必要である。このなかでグレリンは本研究グループの中で基礎的研究と臨床的研究の双方がなされている。総括研究報告の中で、グレリンが神経性食思不振症の治療薬となりうる可能性が示されたとあるが、げっ歯類の研究と、functional dyspepsiaおよび神経性食思不振症患者の負荷試験時の血中グレリン濃度測定からさらに発展して、治療薬への可能性を示すには現時点では成果はまだ不十分といえるが、今後の展開に興味もたれる。

基礎的研究と患者を対象とした臨床研究が協力することで、今後中枢性摂食異常症の診断、治療、予防などの研究の発展により、具体的な疾病に対するアプローチへの成果が得られることが期待されるという点で評価者の意見が一致した。本症の日本における診断、治療、予防などに関わるガイドラインの策定について、本研究グループの今後の展開に期待したいところである。

全体を通してこの評価法による評価は評価者間で概ね一致しており、この評価が公正な評価に適した評価法であることが示された。引き続きこの評価方法を継続すると同時に、さらに多人数での評価を行うなどして、本研

究事業の改善・発展が期待できると考えられる。

#### **E. 結論**

- (1) 難治性疾患克服研究事業の研究課題として、中枢性摂食異常症はその要素を備えている。
- (2) しかし、その内容については基礎的研究の臨床的有効性が不明瞭な感が否めなかったため、研究の方向性について再考し、さらに応用領域への発展性がある研究が要求されると考えられた。

#### **F. 健康危険情報**

とくに該当なし

平成 17 年度厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）  
分担研究報告書

難治性疾患克服研究の評価ならびに研究の方向性に関する研究

研究内容の科学的評価

「呼吸器系疾患調査研究」および「骨・関節系疾患調査研究」の検討

研究要旨

科学的臨床研究事業である難病性疾患克服研究事業は患者への給付と連動した日本独自の制度として大きな成果を挙げてきた。しかし過去数十年の間にわが国の疾病構造が大きく変化したこと、病態が解明され治療法が進歩していることより、本研究事業の研究対象も対応して改訂されなければならない。そこで本研究班はこのような対象疾患の選考を行うために必要な評価を目標とした。これまでに実施された各調査研究が本研究事業として妥当かどうか、また、効率的に推進され研究成果が上がったかどうか等について、客観的かつ公正に評価するため、独自の評価項目を定め、これに従って臨床研究グループのうち呼吸器系疾患、および骨・関節系疾患調査研究に関して評価を行った。

A. 研究目的

本研究事業は厚生労働行政と密接に関係し、各研究班における研究目的がこの概念に沿ったものであったか、研究の質が高いものであったか、テーマが適切に選択されていたか、班全体が効率的に推進されていたか、などの評価がなされる必要があり、これに基づき次の研究班再編成の決定がなされることが健全な研究事業の運営には欠かせないと考えられる。そこで本研究班は、難治性疾患克服研究事業によって実施された各調査研究が本研究事業として妥当かどうか、また、効率的に推進され研究成果が上がったかどうか等に関して客観的かつ公正に評価することを目的とした。

B 研究方法と対象

1) 対象とした研究課題と評価方法

「呼吸器疾患に関する調査研究」および「骨・関節系疾患に関する調査研究」について、平成 16 年度総括・分担研究報告書ならびに平成 14 年度～16 年度総合研究報告書をもとにした書面審査、および当班員による班会議での討議により、事後評価を行った。

方法としては当研究班が新規に作成した評価シートを用い、標準化された評価方法に従って個別に採点した。これに基づき当班の分担研究者が平均値を算出し取りまとめた。

評価は以下の 3 つの大項目からなり、本研究班が新たに作成した評価表（別添）を使用して行われた。

2) 評価者と評価方法

分担研究者、内科医で臨床疫学の専門家、内科医で疫学の専門家の 3 名が、「特発性心筋症に関する調査研究」33 研究課題、および「進行性腎障害に関する調査研究」40 研究課題を、本研究班が作成した評価シートを用い、標準化された評価方法に従って個別に採点した。

評価項目は、以下の 3 つの項目からなる。

I 研究事業全体と関連した項目

① 疾患の定義

定義が確立された疾患が対象か

② 発症率、有病率の把握(疫学研究)

③ 診断基準の策定

策定・改訂を行うものであったか

④ 重症度分類の策定

重症度分類の策定・改訂を行ったか

⑤ 治療ガイドラインの策定・改訂

策定と改訂作業が行われたか

国際分類との対比が行われたか

わが国の特殊性への配慮がなされたか

難病情報センターなどへの公表

関連学会のガイドラインとの整合性

⑥ 病態の解明

未解明の病態を明らかにする研究か

II 個々の研究課題について

① 研究計画の妥当性（臨床に役立つ研究か）

② 研究の目標（ロードマップの設定があるか）

③ 研究計画の進捗状況（順調に進捗しているか）

- ④ 研究代表者の指導性  
(研究全体の連携と整合性があるか)
- ⑤ 研究成果(治療・患者の福祉・病因の解明・病態の解析に役立つか)
- ⑥ 行政への貢献度(期待できるか)
- ⑦ 研究の倫理性(遵守されているか)

### III 研究発表等に関する項目

- ① 受理された研究発表の有無
- ② 発表の質
- ③ 本研究の目的への適合性
- ④ 本研究事業に基づくことを明記したか

## C 研究結果

### I. 【びまん性肺疾患調査研究班】

#### 分担研究班の構成

- 1) 主任研究者 1 名、
- 2) 分担研究者 1 4 名、
- 3) 研究協力者 1 9 名。

研究協力者が比較的多数存在する研究班で、分担研究者が研究のクオリティーや具体的目標をコントロールできているのか、危惧される。

#### 研究事業全体と関連した項目について

本研究班は平成 1 4 年度から同 1 6 年度の構成で 3 年間の研究を終了した。

本研究班は研究対象として下記の疾患を対象としている。

- 1) 特発性間質性肺炎
- 2) サルコイドーシス
- 3) びまん性汎細気管支炎

特発性間質性肺炎の中には後に述べる「呼吸不全に関する調査研究」班の研究とオーバーラップしている研究テーマもあり、これに関しては研究班の間での調整や研究事業全体からの見直しが必要である。

サルコイドーシスは“予後が不良で進行性である”という観点からは難治性とはいえない。本研究事業では完全型や重症型といった病型に限るべきであろう。他の 2 疾患は重症度・予後不良であることもさることながら、診断や病態も不明で、疾患の定義も未だに混沌としている。この点は本研究事業で扱うべき対象であろう。

本研究班は下記の研究方法のいずれかにより行われている。

- 1) 全国調査と疫学調査
- 2) 臨床病態研究
- 3) 動物モデルによる病態基礎研究

全体的には分子生物学的な研究手法を用いた病態に焦点を合わせた班になっている。

#### 個々の研究課題について

特発性間質性肺炎の調査で、HRCT を用いた所謂“画像疫学調査”を計画し、進行していることは注目に値する。対象としている症例数も 4,000 例に近く十分で優れた研究である。

特発性間質性肺炎とサルコイドーシスでは個人票に基づく全国調査も行い、軽快者の概念も導入するなど、新規の調査がなされ、評価に値する。

一方、SFTPC 遺伝子の解析などはいずれも negative study であり、症例数も数十例と多型解析にはあまりにも少なすぎる(本来、数百から 1,000 例は必要)。もはやこの研究は本事業内で行うべきではない。

また多施設で新薬の臨床治験を進めているが、治験は本研究事業の目的とはならず、今年度限りで中止すべきである。

#### 研究発表について

唯一、分子標的薬の肺障害に関する研究で優れた論文(Lancet)が出されている。しかし全体としては研究の成果についての記載がすくなく、研究報告書の内容も他の研究報告書と比較して劣っていた。

### II. 【呼吸不全に関する調査研究班】

#### 分担研究班の構成

- 1) 主任研究者 1 名、
- 2) 分担研究者 1 1 名、
- 3) 研究協力者 3 名。

構成としてはバランスがとれている。

#### 研究事業全体と関連した項目について

平成 1 4 年度から平成 1 6 年度の 3 年計画の班活動が終了している。呼吸不全という、本来的に予後の悪い疾患につき、呼吸機能的なアプローチを行う班である。

### 個々の研究課題について

対象疾患としては、

- 1) 若年性は肺気腫を含む COPD
- 2) 肺リンパ脈管筋腫症 (LAM)
- 3) 肥満低換気症候群・肺泡低換気症候群を含む睡眠時無呼吸低呼吸症候群

患者会サポートを通じた QOL に関する研究から遺伝子異常の検討まで幅広い。日本人の原発性肺高血圧症例のかなりの症例で欧米と同様の BMPR2 候補遺伝子などに遺伝子変異を証明している点は高く評価される。多型分析ではなく変異であることから予後の予知予防に役立つ。

33 という多くの研究グループに分かれて調査研究が行われている。前述のようにこの研究班は一部びまん性肺疾患調査研究班とテーマがオーバーラップしているので整理・調整が必要である。ただし概ね本研究班は機能的な面を扱っている。今後、社会的要請からも旅行者の長時間座位による下肢深部静脈血栓症と肺梗塞、SARS に関する研究なども含めるべきである。

### 研究発表について

特記事項はない。本研究に基づくことを acknowledge すべきである。

## III. 【特発性大腿骨頭壊死症】

### 分担研究班の構成

- 1) 主任研究者 1 名、
- 2) 分担研究者 23 名、
- 3) 研究協力者 26 名。

非常に多くの分担研究者と班協力者を設けている。それぞれの役割分担を明確にすべきである。特に、本研究事業とは無関係の研究結果を発表しているケースもあり、分担研究者としては不適切である。

### 研究事業全体と関連した項目について

本研究班は平成 13 年度から平成 15 年度までの研究を終了し、平成 16 年度に新たな班をスタートさせている。研究目的を新たに

設定し、大腿骨頭壊死の“有効な予防法の開発”と“治療の標準化”を掲げている点は結果に期待が寄せられ、評価に値する。

しかし研究方法、班員の構成は以前の班に近似しており、結果をより重視すべきと考える。

内科、整形外科、基礎医学が上記の研究目的に沿って班を構成することになっている。この点は重要であり、必ず事後評価されねばならない。もしこの特色が生かされていなければ単に広く研究費が使われたにすぎない結果となる。

### 個々の研究課題について

大腿骨頭壊死症には全身疾患ではなく、生命予後も他疾患に比較すると良い。また希少性もないが、QOL をおかす・近年増加しつつある、などの点からは研究すべき理由はある。

テーマは

- 1) 予防
- 2) 治療法の標準化

という大きな 2 カテゴリーに分かれている。

予防に関しては、遺伝子の多型や血液凝固以上に関して研究されているがこのアプローチを採る必然性が乏しい。

ただし今年度の班ではこの点を改善する努力が見られ、サブグループを組織することで具体的な研究課題に取り組みせようとしている。今後注目したい。

- 1) 疫学調査による患者数把握・要因の解明
- 2) 病態解析
- 3) 予防法開発
- 4) 治療方針の確立  
コンピュータ手術支援の導入など
- 5) 研究成果の普及  
EBM の発信

### 研究発表について

トップジャーナルを記載しているが、本研究に基づくことを acknowledge すべきである。

#### IV. 【脊柱靱帯骨化症】

##### 分担研究班の構成

- 1) 主任研究者 1 名、
- 2) 分担研究者 16 名、
- 3) 研究協力者 10 名。

##### 研究事業全体と関連した項目について

本疾患は比較的発生頻度が多いが難治度の高い疾患である。本研究事業において対象とすべき疾患と考えられる。これに対して比較的多く（16 人）の分担研究者によって構成されている。

整形外科が専門の研究者が主体であるが、他分野の共同研究者、分担研究者も協力する構成となっている。主任研究者が臨床的テーマの研究と基礎医学的手法を用いた研究とのバランスをとっており、この点について優れた班である。

##### 個々の研究課題について

###### 1) ゲノム解析による関連遺伝子研究

本疾患の発症に関与する遺伝子、蛋白や因子に関する全容はいまだ同定されていない。これに対し多因子疾患である本疾患に関与する遺伝子を罹患同胞対法などで明らかにする計画を含む。関与する遺伝子が明らかとなっても多因子遺伝を示す形質であるので単一遺伝子疾患のように遺伝子診断へそれを応用することはないであろう。むしろその遺伝子の機能解析を行うことで、新しい治療や創薬の分野で進展が期待できる。その意味ではサブグループのうち、下記のもの期待される。

■ OPLL 靱帯細胞の骨芽細胞への分化制御の解明に関する研究

■ 後縦靱帯骨化症患者由来脊柱靱帯細胞に対するメカニカルストレス

上記の 2 グループは研究者として遺伝子研究のエキスパートを含んでいる。これまでの研究ですでに positive に関連する遺伝子を同定し、論文発表も見られる。Activity の高いグループである。他班でも同様の網羅的遺伝子研究が計画されているが、このように一歩踏み込んだ研究として候補遺伝子の機能解析を行なっている点がこれらのグループでは評価される。

###### ■ 後縦靱帯骨化症の遺伝子解析

このグループではゲノム解析に必要な多数のサンプルを入手しているが、未だ positive な結果が得られていない。

###### ■ 脊椎後縦靱帯骨化症の感受性遺伝子解析

やっとな候補として COL6A1 遺伝子を挙げるところに来たが、遺伝子の機能から考えて今後の研究が重要と考えられる。

###### ■ cDNA マイクロアレイを用いた慢性圧迫骨折性脊髄傷害における遺伝子発現解析

脊髄傷害に焦点を合わせた関連遺伝子の解析で、テーマとしては重要。しかしまだ候補遺伝子の機能解析から脊髄傷害との関連が機能的に証明されていない。これを明らかにしなければ本研究事業での研究活動としては成り立たない。

###### 2) 骨への機械的ストレスや増悪因子に関する基礎的研究

このテーマで下記のいくつかの研究がなされている。

###### ■ 細胞骨格の変化による BMP の応答制御

本研究グループでは機械的ストレスそのものを検討せず、アプライオリに BMP2 等を会する細胞内のシグナル伝達を研究しており、本研究班としての位置づけが明確でない。

###### ■ 神経栄養因子に関する脊髄神経細胞の圧迫ストレス応答

脊髄における神経再生への関与が示唆されている神経栄養因子に関する研究だが、研究結果からアストロサイトでの同因子の発現の意義を示唆した。単なる推察に終わらせず今後の発展がなければならない。

###### ■ 耐糖能異常下における骨化関連因子の検討

■ 脊柱靱帯骨化症における靱帯骨化メカニズム—糖代謝との関わりを細胞膜プロテオーム解析から究明する—

###### ■ 靱帯・腱および脊柱靱帯骨化症における Msx2 遺伝子の発現とその意義に関する研究

最初に掲げた研究では、遺伝的および薬剤誘発性の耐糖能障害ラットにおいて全身の骨化の程度を検討し、骨化素因を助長することを証明しており、評価される。しかし直接的には leptin の骨化作用を介するかどうか等メカニズムを全く明らかにしておらず、この点は不足している。さらに生化学や糖代謝の専門的研究者も研究体制に加える必要がある。このような

増悪・促進因子についての検討は続く二つの研究でも行われており、臨床的には重要なテーマである。

■ 分節型頸椎後縦靭帯に対する片開き式脊柱管拡大術の長期成績

この研究グループのように臨床テーマを研究目的として持つものは本研究事業本来の方向性に合致するものである。しかもこれらは研究レベルも高く評価される。

■ 胸椎後縦靭帯骨化症に対する Navigation Surgery

本研究事業の報告書としては、非常にエポックメイキングな症例であれば症例報告形式も許されると考えられる。しかし本年度の内容はそのような事例はこの研究以外には見当たらない。

- 胸椎後縦靭帯骨化症の除圧術直後の麻痺悪化例
- 頸椎後縦靭帯骨化症の保存的経過症例の検討
- 胸椎後縦靭帯骨化症に対する後方除圧固定術
- 頸胸椎 OPLL に対する広範囲脊柱管拡大術の述語成績
- 胸椎 OPLL の手術的治療－術中モニタリングについて－
- 胸椎後縦靭帯骨化症に対する脊髄全周除圧術の治療成績
- 頸椎 OPLL 述語患者に対する BASFI による ADL 評価の試み
- 胸椎黄色靭帯骨化症の手術成績と予後に与える要因に関する研究
- 胸椎後縦靭帯骨化症に対する椎弓切除術の治療成績

上に挙げた九つの研究では、たった1例から3例の術式の提示に終わっているものがほとんどである。それぞれの病院での術式を示すのでなく研究班として治療法の検討を行うべきであると考えられた。これができないのであればこの臨床研究のグループは来年度以降、班での活動について見直しが必要である。

■ 鹿児島県における頸椎後縦靭帯骨化症患者申請の実態調査

この研究は厚労省の行政的課題と直結するため研究の必要度は高い

難治性疾患克服研究の評価ならびに研究の方向性に関する研究

研究内容の科学的評価

難治性疾患の受給者数に関する予備調査

研究要旨

難治性疾患克服研究の評価ならびに研究の方向性に関する調査研究班で新たに作成した、定量的かつ公正に調査研究を評価しうる評価票を用いて、厚生労働省難治性疾患克服研究事業によって実施された「臨床調査研究班」の評価と共に、本研究事業の対象となっている 4 5 の難病性疾患の受給者数の実態に関する予備調査を一地域の全数調査として行った。

A. 研究目的

「難治性疾患克服研究事業の評価又は企画に関する研究」班（主任研究者 清野裕）は、平成 16 年 12 月に、平成 14 年～16 年にわたる研究成果に基づき、本研究事業に求められている社会的な使命を果たすためには、社会的需要を鑑み事業の目的に照らして研究班の再編を定期的に行うことが好ましいと提言した。骨子は各調査研究班の研究内容について、1) 調査研究班が行う疾患が適切であるか、2) 研究事業として班構成が適切かどうか、3) 診断・治療ガイドラインの策定など難病研究に資するかどうか、4) 科学的な観点から優れた研究内容かどうか、5) 研究の成果はどうか、の基本的な観点から公正に評価をし、さらに行政的な観点から検討した上で、次年度の研究班の構成や補助金配分を考慮することが望ましい。というものである。

そこで、本分担研究では、「調査研究班が行う疾患が適切であるか」を検証するための予備調査として地域における全数調査を行った。

本年度の分担研究では、各調査研究班が効率的に推進され研究成果が上がったかどうか等に関して客観的かつ適切に評価することと共に、本研究事業の対象となっている 4 5 の難病性疾患の受給者数を、1 地域の全数調査で検討すること、を目的とした。

B. 研究方法と対象

N 県 T 町の町立病院で平成 13 年度および 17 年度に交付された 4 5 難病性疾患受給者名簿から該当疾患の受給者数を調査した。個人が特定できないように情報は連結不能とした。

C. 研究結果

N 県 T 町の人口は 12,197 人（男 6,014 人 女 6,183 人）、世帯数 3,710（平 16）で、0～14 歳が約 15%、15 歳～64 歳が約 53%、65 歳以上が約 32%である。全人口は平成 2 年以降漸次減少しているものの（平成 2 年 12,955 人）、人口動態（自然動態：出生 106 人・死亡 134 人、社会的動態：転入 233 人・転出 328 人）は比較的安している。主産業は農作物（水稲）の生産と畜産（豚）。病院：基幹病院 1（町立 T 病院：一般病棟 6 2 床、療養病棟 5 2 床）、有床病院 1、診療所 2 で、町立 T 病院には、主たる疾病を持つ患者の大多数が通院している。地域の全数調査を行うためには理想的な地域といえる。

平成 13 年度および平成 17 年度に町立 T 病院で交付された難病性疾患は表の通りである。

平成 17 年度に申請され、交付された難病性疾患は、ベーチェット病（1 名）、重症筋無力症（1 名）、スモン（1 名）、特発性血小板減少症紫斑病（2 名）、潰瘍性大腸炎（5 名）、ピュルガー病（1

名)、脊髄小脳変性症(1名)、パーキンソン病(6名)、アミロイドーシス(1名)、ウィリス動脈輪症(1名)、原発性胆汁性肝硬変(1名)、網膜色素変性症(2名)であった。

パーキンソン病が最も多く、平成17年度の新規交付は5件で継続交付と合わせて6件、ついで潰瘍性大腸炎がそれぞれ2件および5件であった。

表1 町立T病院における  
難病性疾患(45)受給者数

	平成13年度	平成17年度 (新規申請分)
ベーチェット病	1	1
重症筋無力症	1	1
スモン	1	1
特発性血小板減少症紫斑病	1	2 (1)
潰瘍性大腸炎	7	5 (2)
ビュルガー病	2	1
脊髄小脳変性症	2	1
パーキンソン病	4	6 (5)
アミロイドーシス	2	1
ウィリス動脈輪閉塞症	1	1
原発性胆汁性肝硬変	0	1 (1)
網膜色素変性症	1	2 (1)

#### D. 考察

本分担研究として、難病性疾患の地域における実態を明らかにする一助として、人口動態が比較的安定しており著しい高齢化のない一地域における全数調査を試みた。予備調査の結果、全国で交付者数の多いパーキンソン病および潰瘍性大腸炎の申請が多かったが、母集団の人口が12,197人と少ないために、今後経年的に観察しデータを集積していくことが必要である。この際、地域の特異性がないかの検討も必要である。本調査の独自性は、専門病院に対するアンケート調査ではなくこの地域唯一の基幹病院での全数調査なので population-based とみなすことができ、従って、地域で難病性疾患として認定されている患者の重症度を的確に判断しうることである。今後の研究の進展いかんにより、行政に貢献しうる新知見が見出せるかもしれない。今後は、町立T病院での難病性疾患の把握率と患者の代表性の検討、T町保健所に申請された難病性疾患へのアクセスなどについて、倫理面に充分配慮しながら調査を進めていきたい。

E. 研究発表 なし

F. 知的財産権の出願・登録状況 なし