

厚生労働科学研究費補助金

特別研究事業

戦略的アウトカム研究策定に関する研究

平成18年度 総括・分担研究報告書

平成19年3月

主任研究者 黒川 清

目 次

研究参加者一覧	1
総括研究報告	3
分担研究報告	19
戦略研究モニタリング・評価の指標の開発と実施方法の検討	21
平成17年度・18年度戦略研究課題の進捗状況について	31
腎臓病重症化予防のための戦略研究の提案	45
聴覚障害児の療育等により言語能力等の発達を確保する手法の研究提案	55
視覚障害の発生と重症化の予防を目指す戦略研究のあり方に関する研究	63

研究参加者一覧

主任研究者	黒川 清	東京大学先端科学技術研究センター	客員教授
分担研究者	辻 一郎	東北大学大学院・医学系研究科	教授
分担研究者	福原 俊一	京都大学大学院・医学研究科	教授
分担研究者	山田 信博	筑波大学大学院・人間総合科学研究科	教授
分担研究者	吉田 裕明	財団法人老年歯科医学総合研究所	主任研究員
分担研究者	川上 浩司	京都大学大学院・医学研究科	教授
研究協力者	菱田 明	浜松医科大学・医学部内科学第一講座	教授
研究協力者	市川 銀一郎	順天堂大学・医学部	名誉教授
研究協力者	本田 孔士	大阪赤十字病院	院長

総括研究報告

厚生科学研究費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

戦略的アウトカム研究策定に関する研究

総括研究報告書

平成19年3月

主任研究者

黒川 清 東京大学先端科学技術研究センター 客員教授

研究要旨

本研究班は平成16年度より、高い科学性、高い透明性、高い倫理性という基本的価値基準にもとづいて、戦略研究課題の計画立案・インフラ整備に関する検討を行ってきた。本年度は以下に関する検討を行った：

1. 戦略研究課題に関するモニタリング・評価における基準・項目とその実施方法
2. 平成17年度および平成18年度に開始された戦略研究課題の4課題の進捗状況と戦略研究課題の意義および問題点をヒアリングし、今後の戦略研究の実施において必要な修正等
3. 平成19年度の戦略研究課題「腎疾患対策戦略研究」と「感覚器戦略研究」について研究計画の骨子の提案
4. これらの検討結果をもとに、今後の戦略研究全体の在り方として、以下の必要性を提案した。
 - 1) 政策目標を達成する為の介入に関する仮説を導き出す為に必要な研究情報、疫学・調査情報の収集と整理の強化
 - 2) 米国NIH等が採用している「Request for Proposal」で行われている公募方式（研究リーダーではなく研究実施計画書を公募する方式）導入
 - 3) 臨床医学の経験を持ち、臨床研究のデザインや基本的な手法を習得しているClinician Investigator人材の養成
 - 4) 研究の実施に必要な委員会の運営や国民・患者への情報提供等を、戦略研究課題全体として一括して実施する組織の構築
 - 5) 大規模な多施設臨床研究を実施することを前提にした新たな研究補助金規定の必要性

分担研究者：

川上 浩司	京都大学大学院	医学研究科	教授
辻 一郎	東北大学大学院	医学系研究科	教授
福原 俊一	京都大学大学院	医学研究科	教授
山田 信博	筑波大学大学院	人間総合科学研究科	教授
吉田 裕明	(財) 老年歯科医学総合研究所	主任研究員	

A. 研究の目的

厚生労働省では、「今後の中長期的な厚生労働科学研究の在り方に関する専門委員会」を組織し、新たな研究の枠組みを検討し、欧米で行われてきたアウトカム研究をモデルとした「戦略研究」を創設し、平成17年度より厚生労働科学研究の枠組みのひとつとして開始した。この「戦略研究」は、将来の厚生労働科学研究のあり方を見据えた、わが国初の先駆的な試みで、多くの研究者にとって馴染みの無いものである。

戦略研究は、「厚生労働省があらかじめ、国民のニーズにもとづいて策定した具体的な政策目標を定めた上で、成果（アウトカム）指標と研究計画の骨子を定めて実施する大規模臨床研究で、その成果は、できるだけ速やかに実際の診療などに広く生かされることを期待されている。したがって、戦略研究の第一の目的は、「国民にとって優先順位の高い医療政策目標を達成するための介入方法の有効性を検証すること」にある。この目的を予定期間内に達成する為に、研究者と研究実施団体は研究実施計画の細部を定め、研究実施体制を整備した上で研究を実施する。

一方、わが国では、大規模臨床研究を実施するための研究基盤の整備はなかなか進まず、また具体的な方略に関して統一方針が得られていない。すなわち、戦略研究のような大規模臨床研究を実施するための優れた研究基盤は、わが国には少ない。その大きな原因の1つとして、「これまでわが国には、大規模臨床研究の実施を可能にする公的な研究補助金の仕組みが存在しなかったこと」が、あげられてきた。そこで、戦

略研究の第2の目的として、「実際に大型の公的な研究補助金を投入して大規模臨床研究を実施させ、その実施に際して直面する研究基盤に関する様々な問題を抽出し、順次解決することで研究基盤の整備を促進すること」が、上げられているのである。この目的を達成することなしに、予定期間内に第一の目的を達成することは不可能であることは言うまでもない。

そこで、以下の2点を本年度の研究の目的とした。

1. 戦略研究に関する厚生労働省所管課および研究実施団体から独立した第3者委員会によるモニタリング・評価の項目とその実施方法を提案すること。
2. 平成17年度および平成18年度に開始された戦略研究課題の4課題の進捗状況を確認し、今後の戦略研究の実施において必要な修正等を提案すること。

さらに、

3. 平成19年度の戦略研究課題について研究の成果目標と研究計画の骨子を提案すること。

を第3の目的とした。

さらに、これらの検討結果を総括することにより戦略研究課題全体の今後の在り方について検討を加えた。

B. 研究方法

1. モニタリング・評価の項目の検討

文献等による調査及び平成17年より開始された戦略研究課題「糖尿病予防のための

戦略研究」「自殺対策のための戦略研究」の研究実施団体等の関係者からのヒアリングに基づき、以下の検討を行った。

- ① モニタリング・評価の目的の明確化
- ② モニタリング・評価の基準（項目）
- ③ 実施方法

上記に基づき、モニタリングシート案を作成し、すでに平成17年より開始されている戦略研究課題「糖尿病予防のための戦略研究」「自殺対策のための戦略研究」の研究実施団体等の関係者を対象に、そのモニタリングを試行した。試行の結果、明らかとなったモニタリング実施上の問題点を明らかにし、モニタリング・評価の項目及び実施方法に関する提案を行った。

2. 戦略研究課題の進捗状況と今後の戦略研究の実施における課題

平成17年度、平成18年度に開始された戦略研究課題4課題のそれぞれについて、研究進捗状況及び研究実施体制を把握し、研究の運営、最終研究実施計画書の確認、研究実施過程について、問題点の抽出を行った。併せて、今後の戦略研究推進のために、改善の余地があると思われる事象について、研究実施団体の関係者から意見を聴取した。これにより、現在の進捗状況を把握すると同時に、個々の戦略研究実施上の問題点が明らかになった。

3. 平成19年度の戦略研究課題の研究の政策目標および研究計画の骨子に関する検討

平成19年度に開始される「腎臓病」および「感覚器」に関する戦略研究について、文献的な検討に加えて当該領域の研究者と

の意見交換を行うことにより、問題点とこれまでの研究成果を整理した。その結果をもとに、研究の政策目標および研究計画の骨子案を作成した。

4. 今後の戦略研究の在り方に関する提案

本研究班は、以上の分担研究の検討結果抽出された課題に関して検討・意見交換を行った。また、外国人研究者にもヒアリングすることにより海外の事情などの情報収集を行い、戦略研究課題全体の今後の在り方に関する考察をまとめた。

（倫理面への配慮）

本研究は、個人情報やヒト生体資料を扱うことなく、特定の個人を観察や介入の対象とするものでもない。したがって、倫理面の特段の配慮には該当しない。

C. 結果

1. モニタリング・評価の目的および基準・項目の作成

モニタリングの目的は、開始間もない各戦略研究課題を批判的に評価することではなく、質の高い臨床研究成果を政策に反映するため、1) 戦略研究事業に共通の問題点の抽出、分析、改善策提言、2) 個々の戦略研究課題の問題点の共有と支援であることが確認された。

この目的に従って、モニタリングの項目、モニタリング方法案を策定した。さらに、モニタリングを試行し、その結果をもとに一部修正のうえ、最終案をまとめた。（詳細は、分担報告書を参照）

2. 戦略研究課題の進捗状況と今後の戦略研究の在り方に関する提案

1) 現在進行中の、戦略研究課題の進捗状況：

上記のモニタリング・評価基準・項目に基づき、平成17年度、平成18年度に開始された戦略研究課題4課題のそれぞれについて、研究進捗状況及び研究実施体制を把握し、研究の運営、最終研究実施計画書の確認、研究実施過程について、問題点の抽出を行った。戦略研究課題毎に特異的な事項と共通の事項（例：研究費の支出方法に関する問題点、各種委員会の機能の重複と効率化、など）が同定された。結果として、一部の研究プロジェクトにおいて遅延が認められるものの、モニタリング作業を通じて問題点や課題の認識と理解につながり、適切な解決方法を用いて改善される方向であることが確認された。（詳細は、分担報告書を参照）

2) モニタリング結果から抽出された、戦略研究課題に共通する課題の検討と提案：

モニタリングの結果から下記のような共通の課題が抽出された。

- ① 研究課題・研究計画骨子の策定、研究実施団体の選定、研究リーダーの選定、および研究実施計画の策定方法について
- ② 基盤整備や人材育成の必要性について
- ③ 研究補助金規定について

これらの課題については、考察の部分で詳述する。

3. 平成19年度の戦略研究課題の研究計画の骨子の策定

以下の2領域に関して、政策目標とのすりあわせをおこないつつ、文献的な検討および当該領域の専門家からヒアリングを行い、研究計画の骨子を提案した。

1) 「腎疾患対策戦略研究」

この領域では、「かかりつけ医/非腎臓病専門医と腎臓専門医の協力を促進する慢性腎臓病患者の重症化予防の為の診療システムの有用性を検討する研究」に関して研究の研究計画の骨子を提案した。（詳細は分担研究報告書を参照のこと）

2) 「感覚器戦略研究」

この領域では、以下の2課題に関して研究計画の骨子を検討した。詳細にわたる検討と協議を重ね、以下のような課題と骨子となった。

- ① 視覚障害：視覚障害の発症と重症化の予防に関する研究
- ② 聴覚障害：聴覚障害者の療育の向上のための研究

（詳細は分担研究報告書を参照のこと）

D. 考察

平成17年度から開始された戦略研究課題については、実際にその実施に関っている研究者から、以下の戦略研究課題の意義が指摘された。これに寄せる期待には大きいものがある。

- ① 我が国では他国に比して大幅に遅れている大規模臨床研究の基盤整備がよう

やく端緒についてのこと

- ② 研究結果が、臨床にインパクトを与え、施策に反映されるような新しい厚労科学研究の良いモデルができたこと
- ③ 研究分野を同じくする研究者だけの発案では実施不可能であった all Japan の研究実施体制が整備できることが確認されたこと
- ④ 戦略研究課題の実施そのものが、現在わが国に多く求められている「世界に通用する臨床研究に関する経験豊富な研究者」の育成の為の良い on the job training の場となっていること。

一方、その期待の大きさから、全体像から細部にわたる改善案を示唆する多くの意見も上がっている。例えば、戦略研究そのものの仕組み、適切な研究者の育成、臨床研究に適した研究費の在り方への改善、効果的なモニタリングの在り方の開発、といった指摘がある。そこで本研究では、既に開始されている戦略研究の進捗状況をモニタリングすると同時に、このような関係者の意見を聴取した。

また、現在進行中の、戦略研究課題の進捗状況を見ると(分担研究者報告書参照)、戦略研究課題毎に進捗の遅れがみられることは否定できない。これについては、適切な解決方法を用いて改善される方向にあるものもあるが、今後の順調な進捗を保証するものではない。関係者の意見を聴取した結果を見ると、指摘された問題点のすべてが、研究の各ステージにおける進捗の遅れに密接に関連する問題であると考えられた。

そこでこの項では、改善すべき課題を研究のステージを加味した上で整理し、モ

ニタリングの結果ばかりでなくこれにより聴取した関係者の貴重な意見も参考の上、戦略研究課題全体の枠組みについて考察する。

1. 研究課題・研究計画骨子の策定、研究実施団体の選定、研究リーダーの選定、および研究実施計画の策定方法について：

1) 戦略研究課題の選定・研究計画骨子の策定、研究実施団体の選定について：

現在は、省内で選定され科学技術部会が承認した研究課題について、開始前年度の秋より特別研究班である「戦略的アウトカム研究策定に関する研究」班（本研究班）が、所管課と協調して、研究計画の骨子を策定、一方で、所管課が研究実施団体を選定し科学技術部会が承認することにより、戦略研究の準備が完了する。

戦略研究の初年度の早期に研究を開始するためには、研究計画の骨子の策定と研究実施団体の選定は、研究開始前年度中に行われる必要があるが、現状では初年度の5-6月にずれ込んでおり、研究の開始の遅れの最初の原因になっている。この点を改善するには、まず、開始前年度の研究計画の骨子策定の着手をできる限り早期に開始することは言うまでもない。

また、研究計画の骨子作成の過程では所管課が当該領域の専門家を含む本研究班と協議の上ヒアリングを設定・実施する。そこに存在する以下のような問題点は、研究計画の骨子の質に影響するばかりでなく、研究の進行に大きく影響する要因として改善すべきものである。

①ヒアリング対象の問題：

ヒアリングの対象となる臨床専門家には求められる以下のような資質が不十分であるような場合があった。

- i) 自らの専門領域と国民の健康を俯瞰する「政策的な視野」を持つこと。
- ii) 戦略研究の求める「高度な臨床研究」の専門知識・手法に精通していること。
- iii) 「アウトカム研究」に関する基本的な知識を持つこと。(臨床試験・治験のみを臨床研究と誤解している専門家も多い。)

この問題は、効率的なヒアリングを阻害する要因となり、研究の遅れの原因となる可能性がある。

この問題は、これまで、以上のような資質を求められてこなかった研究者側の問題である可能性が高い。現在のわが国には、このような資質を備えた研究者は多くは存在しない。一方、これらの資質は、戦略研究のみならず、今後の厚生労働科学研究、そしてわが国に求められている「世界に通用する臨床研究」を実施する、多くの医学研究者に求められる資質である。研究者の資質向上のためには、まずは戦略研究を通して、より多くの研究者にこのことを啓蒙し、研究者を育成する必要がある。それには時間を要するため、効率的なヒアリングを実施するために当面は、ヒアリングに際して、対象となる研究者に何を求めるのかを明確に示すことから始める必要がある。実際、これを示された研究者は、十分ではないにしても、求めに応えようとする者が多く存在した。

②ヒアリング方法の問題：

ヒアリングの目的がヒアリング対象者に明確に伝わらなかったこと等から効率的なヒアリングが計画されていない場合があった。このことは、ヒアリングの遅れに直接影響したと言わざるを得ない。

この問題は、①に上げた問題とも関連する。ヒアリングの目的は、大きく分けて2つあるものと考えられる。1つ目は、当該領域の問題点の抽出である。このことにより、所管課は掲げた政策目標が適正であることを確認することができる。また、2つ目は、抽出された問題点を解決するための仮説を導き出すための情報収集と意見聴取である。意見聴取には、仮説に基づいた介入方法、研究計画の骨子(案)の実施可能性に関する意見聴取も含まれる。今後は、ヒアリングに際して、事前にその目的を明確に定め、それに基づいたヒアリングを計画する必要がある。そして、ヒアリングの対象となる臨床専門家にヒアリングに求める内容を事前に十分に説明することにより、効率的なヒアリングを実施することが可能になるものと考えられる。

③背景情報の不足の問題：

本研究班が平成16年度より3年間行ってきた様々な分野にわたるヒアリングで明確になったことは、政策目標を達成する為の介入に関する仮説を導き出すのに必要な背景情報、すなわち、既存研究として、内外ではどのような研究が行われているか？わが国ではこれまで何がわかっているか？わかっていないか？等の情報と吟味が不足していたため、介入研究を実施する為の研究

計画の骨子を作成することが困難な場合があること、である。

本研究班は、昨年度の報告書に、戦略研究課題の選択の基準になる以下の4つの基本的要件を上げた。

- i) 人間あるいは人間集団を対象とする臨床研究であること。
- ii) 掲げた政策目標を達成するために、科学的な仮説を構築できるだけの基礎的、臨床的研究知見の集積があること。
- iii) 評価対象となる医療サービス（例：診断・治療法など）が、実際に政策として国民にひろく普及させることが可能な段階に到達していること。
- iv) 患者・国民、社会レベルで意味のあるアウトカムが設定できること。またこれを測定する信頼性・妥当性の検証された指標があること。

このうち、ii)～iv)がこの背景情報に当たるが、ヒアリングあるいはその前にこれらの正確な情報を系統的に検討することには困難を伴う状況にある。本年度研究計画の骨子を作成した平成19年度「感覚器戦略研究」では、科学的な仮説を構築できるだけの基礎的、臨床的研究知見の集積がなく、所管課も明確な政策目標を提示することが困難な状況と判断した。そこで初期に介入研究を実施するための調査研究を含む戦略研究内容を提案することとした。

このように、科学的な仮説を構築できるだけの基礎的、臨床的研究知見の集積がなければ、戦略研究として、その科学的な研究成果を施策等に反映し、広く社会に還元する研究デザインを構築することには困難を伴う。そこで今後の対策として、研究課

題の選定に当たっては、戦略研究課題の選択の基準、社会的なニーズ等に照らして、適切かどうか十分に検討する必要がある。

さらに、戦略研究のような介入研究の前段階と位置付けられるさまざまな疫学・調査研究をより一層充実させる必要があることは改めて言うまでもない。

④研究計画の骨子作成のための作業に必要な専門家の問題：

これまでに実施されてきた戦略研究課題では、研究実施計画書を作成する段階で、サンプルサイズの変更がなされる場合があり、平成17年の戦略研究課題のモニタリング時に、「研究計画の骨子作成の段階からサンプルサイズの推定を行う統計専門家からの助言が必要」という意見があった。サンプルサイズは、研究に必要な予算にも直接影響する要素であり、重要な指摘と考えられる。このほか、研究計画の骨子作成に際しては、経済評価の方法の専門家、行動科学的な介入方法の専門家、主観アウトカム測定方法の専門家など、必要に応じてこれらの専門家の意見を聴取する必要があるものと考えられた。

2) 研究リーダーの選定、および研究実施計画の策定方法について：

現在は、研究実施団体が研究計画の骨子をもとに研究リーダーを公募選定し、選定された研究リーダーが研究実施団体と共に研究実施計画書を作成している。これは米国 NIH が採用している「Request for Proposal」方式と類似のものである。NIH において、「Request for Proposal」方式で

は、研究リーダーを公募するのではなく、研究実施計画書を公募し、その作成者が自動的に研究リーダーとなる点が現在の戦略研究のスキームとは大きく異なる点である。研究者は、公開された研究計画の骨子に従って、「seed money」と呼ばれる少額の研究費によって、採択後可及的速やかに研究に取りかかることができる段階まで成熟させた研究実施計画書を約3ヵ月間かけて作成し応募する。応募された研究実施計画書は、約6カ月の peer review process により詳細に審査され採択される。今年度のモニタリングで明らかになった課題として①戦略研究では、初年度に研究実施計画書が作成されるが、これに従った研究の実施は、ほぼ全ての戦略研究課題で初年度には開始できず次年度以降となっている（研究の開始の遅延）こと、②既に開始されている4つ戦略研究課題のすべてにおいて研究開始の遅延を原因として、1年目の予算執行に困難を極めていることがある。研究実施団体体制整備開始の目安となる、研究リーダーの公募説明会が開催されるのは10月以降になっていることから、研究開始の遅延の原因が、研究実施団体の体制整備の開始が遅れていることに端を発していることは明らかである。さらに重要なことは、研究リーダーの研究実施計画書の作成作業に予定期間よりも著しく長い時間を要する現状が、それらの問題点の原因である。すなわち、研究実施計画書が作成できないための研究の開始が遅れ、研究の実施計画書ができないために必要な支出項目を立てられず予算執行ができないという簡単な理由である。

現状では、研究リーダーを選定してから、

研究実施計画書を作成させるが、研究の実現性を上げるために研究リーダーの作成した研究実施計画書を修正する作業が発生し、時にそれに長時間を要し、このことが研究の開始を著しく遅延させている。このことは、研究リーダーの選定において実現性の高い研究実施計画書を速やかに作成できる能力を評価することは困難であることを示している。

そこで、この点を解決する上で、

「Request for Proposal」で行われているように、研究リーダーではなく、研究実施計画書を公募する方式を導入することは、極めて有効であると考えられる。戦略研究のような大規模臨床研究では、「研究に参加する被験者を如何に早く必要な数だけ集めるか」ということが成果をえるための大きなカギを握る。研究実施計画書を公募する方式は、研究開始までの時間を短縮するばかりでなく、研究開始後、その成果をより正確に見込む上でも必要な方式である。

さらに、この方式は、「政策目標達成のために有効と考えられる介入を考案し、その効果を検証する質の高い臨床研究を計画実施する」という戦略研究課題の目的にかなった競争を促すことになり、結果として、人材を育成する上でも有用な方法と考えられる。臨床研究は科学的であることが大前提であるが、同時に診療現場や政策に還元できる relevant なリサーチクエスチョンをもとに行われなければならない。戦略研究では、このような臨床研究のもととなるリサーチクエスチョンを考案できる臨床家が研究リーダーとして不可欠である。また、研究リーダーには研究から得られたデータを科学的に解析するだけでは不十分であり、

結果を診療の視点で解釈しこれを臨床家や政策、そして国民に、発信還元できる資質が必要である。ただし、戦略研究のような本格的な臨床研究に必要な臨床家人材は、臨床的 background を十分に身につけているだけでなく、臨床研究のデザインや実施に関して基本的な手法を習得している必要がある。このような人材は Clinician Investigator と呼ばれる。このような資質を備えた Clinician Investigator は「臨床研究に共通の言語」を有するため、統計家などの他の専門家との間に円滑なコミュニケーション・協力が可能なことから、より質の高い臨床研究を可能にするのである。

戦略研究では、研究リーダーばかりでなく研究実施団体の戦略研究実施室長としても Clinician Investigator を必要とし、さらに、研究を通して育成しようとしている。

臨床研究の分野では我が国よりはるかに進んでいると言われる米国でさえも Clinician Investigator の育成が問題となっており、Master of Science in Clinical Investigation(MSCI) Program と呼ばれる臨床研究専門家の育成コースが注目されている。このコースは、疫学研究の専門家を養成する公衆衛生学の Program とは一線を隔し、臨床診療等の経験をつんだ医師あるいは研究者を対象として、臨床研究のデザインから計画書の策定方法、統計学、データマネジメント、倫理的事項等臨床研究の実施に必要な広範な知識とスキルの教育を提供する大学院教育である。約 10 年前より、その Program を開始した大学の数が NIH のグラントなどのもと急速に増加していることからその注目度の高さがうかがわれる。したがって、戦略研究の実施を通し

て、On the job training の場を提供する一方で、このような専門家を育成する必要があり、臨床系の大学院や研究機関に Clinician Investigator を育成するための教育コースの設置やとそれを可能にするような training grant の創設が望まれる。そこで教育された人材にとって、戦略研究は on the job training の場を提供するであろう。

2. 基盤整備について

戦略研究では、研究実施団体を定め、推進室を中心に、研究基盤を形成している。平成17年度戦略研究課題のモニタリングでは、戦略研究の遂行に推進室の存在が極めて重要であったことが強調されている。一方、推進室から聴取した基盤整備の課題は以下の点であった。

- 1) 研究者および研究支援組織の育成の必要性
- 2) 委員会等運営体制の合理化
- 3) データの品質管理の体制の強化
- 4) 国民・患者への情報提供の強化

(これらの指摘事項についての詳細は、分担報告書：平成 17 年度・18 年度戦略研究課題の進捗状況について、参照)

戦略研究の、創設の背景や、それがわが国初の先駆的な試みで、新たな枠組みで実施する、多くの研究者にとって馴染みの無いものであるという特徴を考えた時、研究者（ここでは、特に臨床研究の専門家としての研究者を指している）および研究支援組織の育成の必要性、を指摘する声が上がるとは予想されたことである。その一方で、実際に戦略研究を始めてみると、研究支援組織の戦略研究実施室に必要な研究者

(臨床研究の専門家)の確保の困難さは、予想を超えるものであった。そこで、このような研究者の処遇の改善とキャリアパスの確立が深刻な問題として指摘されている。そして、このことは戦略研究課題の進捗が遅れる根本的な原因の一つになっているものと考えられる。大型の予算を投入する新たな研究の枠組みを創設しても、それを担う人材と組織が無ければ、わが国初の先駆的な試みも、機能することはないのであるから、極めて重要な指摘である。

現在、研究実施団体には、運営委員会、中央倫理委員会、進捗管理委員会、研究評価委員会等を設置することが求められている。この他、研究プロジェクト毎に、研究に参加する研究班員や研究を支援する組織を運営委員会が選定するにあたって必要な、複数の事前評価を行う委員会を設ける場合が少なくない。これらの委員会の運営は、研究実施団体にとって大きな負担となっており、その一部を中央で一括運営して欲しいと言う指摘がある。このことは、各研究実施団体の事情ばかりでなく、委員会での判断、運営基準の統一、委員会に関する予算の効率的配分等の観点からも貴重な指摘と考えられる。

また、戦略研究は「臨床研究に関する倫理指針」あるいは「疫学研究に関する倫理指針」等にしがって実施される。これらの指針は、個々のデータの品質管理については細かく規定していないため、その基準は各研究実施団体により様々である。このような現状では、戦略研究課題毎に研究の質を高く一定に保つことは困難であるとの指摘があった。臨床研究に科学的、倫理的に高い質を確保しようとした時、分析

に供するデータ個々の品質を如何に管理するかが大変重要であることは言うまでもない。したがって、この指摘はきわめて重要なものと言える。

さらに、各戦略研究課題が開始されると、殆どの研究でその対象となる被験者をリクルートする作業の困難さに突き当たっている。各研究実施団体は、リクルート作業を促進するために医療機関や研究者に様々な働きかけを行っている。同時に、ホームページを設けるなどをして、国民・患者に対して各研究課題を案内しているが、効果は極めて低い。このため、個々の戦略研究で分散して行っている国民・患者への情報提供を、戦略研究全体として統括し強力に推し進める必要があるとの指摘があった。戦略研究が、第2期科学技術基本計画が促進しようとする「これまでの研究開発投資による成果を、さらに国民にとって身近に活用できる臨床・実用技術として還元することを目指す研究開発」と位置付けられるものであるのであれば、国民・患者への情報提供を強力に推し進め、広く理解を得る必要があることは言うまでもない。そしてこのことは、戦略研究課題への国民の参加を促し、戦略研究のもう一つの目的である「我が国の臨床研究を促進する」ことを国民の側から可能にする第一歩となるものと考えられる。その様に考えた時、現状のように国民・患者への情報提供を分散して行うよりも、統括して行うことが有効であるとする意見は一考に値する。

これらの指摘事項を総合すると、各種委員会を運営し、データの品質管理と国民への情報提供を行う機能を持ち、臨床研究の

専門家としての研究者を備えた、戦略研究全体を統括する組織の構築を求めているものと考えられる。毎年、新たな戦略研究が開始されるたびに、新たな研究実施団体が選定され戦略研究を実質的に運営する実施室が設置され臨床研究の専門家を必要とする。それに関わるノウハウの蓄積と人材の育成の仕組みなくしては、毎回馴染みのない関係者が試行錯誤しながら戦略研究課題を実施することになる。このことは、戦略研究課題の遅れをもたらす構造的な問題となるものと考えられる。この問題を解決するための有効な方策の一つが、このような戦略研究全体と統括する組織を構築し、人材の育成とノウハウの蓄積を図ることなのである。

3. 研究補助金の規定について

今回のモニタリングにおいて、この点が重要な課題として提起された。例えば、先述した研究を支援するインフラや支援人材に支出することに、研究補助金規定が対応していないため、研究の実施や人材確保に苦心している現状が明らかになった。

最も本質的な問いかけとして、戦略研究のような公的な大型臨床研究に、既存の研究補助金規定が適しているかということがある。従来、公的な研究補助金規定は、実験型研究をイメージ・意識して作られており、臨床研究を実施するために作られたものではないため、必ずしも臨床研究に適していない点が少ない。特に、多施設が参加する臨床研究を想定していない点が大きな問題点である。一方、現行の補助金規定には、「臨床研究を実施する上で必要とな

る経費の支出に関しては問題点を指摘されるが、臨床研究とは直接関係の無い「実験」に使用する経費については何ら問題点を指摘されない可能性がある。」という矛盾点が存在する。

したがって、臨床研究、特に、大型の臨床研究を実施することを前提にした新たな研究補助金規定の策定が早急に求められる。戦略研究課題の実施の経験をもとに、実際の研究実施に適した新たな補助金規定を策定する準備が整ったものと考えられる。

4. 今後の戦略研究課題の在り方について

これまで、研究者は新たな治療方法の開発にのみに注力することが求められてきた。近年、Translational Research (TR) の必要性が指摘されるようになり、研究の成果の実用化を促進するための臨床研究が注目されている。このことは、研究者には、「実用化」と言う明確な目標に向かった幅広い研究・開発の視点が求められるようになったことを示している。

さらに最近では、TRに関する考え方にも一段と進歩がみられる。TRは、基礎研究と臨床治験の実施までを橋渡しする研究との考えが一般に信じられてきたが、最近では、基礎研究の成果あるいは高度専門機関の場で開発・検証された新たな知見を実際の診療現場においてエビデンスを構築する、そしてそのエビデンスの「浸透」「普及」を促進するような臨床研究も必要で、これもTRの極めて重要な一翼を形成していることが、国際的に指摘されるようになったことがこれに当たる。ここでは、国民あるいは患者のニーズにしたがった「実用化・普及」の必要性、普及のためのインフラ・社会シス

テムを念頭に置いた研究計画の立案、等、さらに広い視野に立った研究・開発の視点が求められるようになったことを示しているのである。

政策目標を達成することを目的に、「医学研究の新しいシーズや知見に関する診療現場におけるエビデンスの構築」および「臨床研究等で作られたエビデンスを実際の臨床現場に浸透・普及させること（エビデンス－診療ギャップの解消）」を特徴とする、この戦略研究課題は、「普及」のため、またはそれを促進するための最新の考え方に立ったTRと位置付けられる。我が国でいち早くこのような研究に対する公的研究助成の枠組を設けたことは、国民の健康と安全を守る厚生行政が他に誇るべき業績と言える。

一方、ここで示してきたように、戦略研究課題の開始によって、その実施に関わる具体的な問題点が明らかになりつつある。

個々の問題点の中には、臨床研究の基盤整備と言う課題において、これまでも指摘されてきたものもあり、それらについてはすでに改善が試みられてきたものもある。それにもかかわらず、臨床研究の基盤整備の進捗（特に、戦略研究のような、大型の臨床研究の基盤整備に関する進捗）は、必ずしも十分なものとは言えなかった。今回実施した平成17年度戦略研究課題のモニタリングで指摘された重要な点は、実際に大型の臨床研究を実施してゆく上でのさまざまな問題点を、個々に最適化する（部分最適）のではなく、全体として最適化する視点（全体最適）が求められたことである。

本研究では、戦略研究に関する問題点とその解決方法に関する提言を行った。モニタリングでも指摘されてきたとおり、ここで挙げた問題点の一部のみを取り上げて修正する作業だけでは、問題点の解決には限界がある。これまで述べてきた提言は、「政策目標を達成すること目的とするこの戦略研究課題は、研究成果の実用化のため、または、それを促進するための、最新の考え方に立ったTRである。」という観点から行ったものである。今後、このような基本的な考えをもとに、より良い在り方を検討し、抜本的な解決をはかることが重要と考えられる。

E. 結論

1. 戦略研究に関する厚生労働省所管課および研究実施団体からモニタリング・評価の項目とその実施方法について検討した。
2. 平成17年度及び平成18年度に開始された戦略研究課題の4課題の進捗状況を確認し、今後の戦略研究の実施において必要な修正等を検討し、提案した。
3. 平成19年度の戦略研究課題について研究の成果目標と研究計画の骨子を検討した。
4. これらの検討結果から戦略研究課題全体の今後の在り方として、
 - 1) 政策目標を達成する為の介入に関する仮説を導き出す為に必要な既存の研究情報、疫学・調査情報の収集と整理の強化
 - 2) 米国NIH等が採用している「Request for Proposal」で行われている公募方

式（研究リーダーではなく研究実施計画書を公募する方式）導入

- 3) Clinician Investigatorの養成の必要性
- 4) 「戦略研究課題全体を一括して管理する組織」構築
- 5) 大規模な多施設臨床研究の実施を前提とした新たな研究補助金規定策定

等について提言を行った。

F. 研究危険情報

該当なし

G. 研究発表

該当なし

H. 知的財産権の出願・登録状況（予定も含む）

該当なし

分担研究報告

厚生科学研究費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

戦略的アウトカムに関する研究

分担研究者研究報告書

戦略研究モニタリング・評価の指標の開発と実施方法の検討

分担研究者

福原 俊一 京都大学大学院医学研究科 教授

川上 浩司 京都大学大学院医学研究科 教授

吉田 裕明（財）老年歯科医学総合研究所 主任研究員

研究要旨

前年度の検討より、戦略的アウトカム研究を成功に導くために、運営体制等プロジェクト遂行上の問題点を抽出・整理し、研究が適切かつ合理的に実施されるための改善策を検討する必要性が確認された。

そこで、今年度は、

1. 戦略研究の基本理念を確認し、これにそったモニタリングの必要性を提言し、その目的を明確にした。
2. 戦略研究におけるモニタリング・評価基準、項目とその実施方法等について検討した。

具体的には、

- ・モニタリング・評価の原案を作成し、原案に沿ったテストランを実施
- ・テストランによって、開発した手法の妥当性を検証することにより目的に沿う手法へと改良

という手順によって行った。

モニタリングの実施に際しては、研究の運営体制、最終研究実施計画書の内容、研究実施支援体制の3点を課題抽出の軸に設定した。また、モニタリング実施方法は、事前調査による研究状況の確認を踏まえて、訪問等による対面形式をとることとした。

本年度は上記の作業を行い一定の成果があったが、今後さらに、実施体制の確立及び基準・項目・方法の定期的見直し・改訂を行う必要がある。この際注意すべきは、モニタリングや評価が形骸化することなく、あくまでも戦略研究の基本理念およびこれに沿ったモニタリングの本来の目的から逸脱しないようにすることである。

A. 研究目的

第2期科学技術基本計画により、厚生労働科学研究費補助金の成果は「国民にとって身近に活用できる臨床・実用技術として還元することを目指す研究開発」という原則に基づいて評価されることになった。このような状況に対応できる新たな研究枠組として、年間10億円、5年間で50億円という大型の研究費を投入する戦略研究が創設されたのである。毎年新たな戦略研究が開始されると考えれば、膨大な額の研究費が投入されることがわかる。このような戦略研究の実施に際しては、モニタリング・評価により、科学的・倫理的にみて質が高い臨床研究の実施を保証することが必要とされる。また、その研究成果を「国民にとって身近に活用できる臨床・実用技術として還元する」と考えたとき、示された成果はあらゆる角度からみて公正な手続きで得られたものである必要があり、その実施過程の透明性を高くする必要がある。したがって、評価のみならず、評価の基となるモニタリングにいても、これを実施する厚生労働省所管課や研究実施団体とは独立した第三者によって実施される必要がある。

これまでの厚生労働科学研究費補助金のしくみは、戦略研究のような研究を想定していなかったため、評価方法や体制において整備を要する部分が少なくない。そこで、その評価を適正なものにするために、戦略研究の経緯をモニタリングする体制を新たに整備し、そのようなモニタリングに基づいた評価の体制を整備する必要があるとされた。この点は、従来の班研究とは一線画す戦略研究の特徴の一つと言える。

本研究班では、昨年度の研究報告書の中で、厚生労働省所管課および研究実施団体から独立した第三者委員会によるモニタリングの必要性を提言した。本研究において、モニタリング・評価の項目とその実施方法について検討することとする。

B. 研究方法

1. 本研究では、文献等による調査、平成17年より開始された戦略研究課題「糖尿病予防のための戦略研究」「自殺予防のための戦略研究」の研究実施団体等の関係者からのヒアリングに基づき、以下の点に関して検討を行った。

- 1) モニタリング・評価の目的の明確化とその共有
- 2) モニタリング・評価の基準（項目）および実施方法の検討

2. 上記に基づき、モニタリング項目の素案を作成、すでに平成17年より開始されている戦略研究課題「糖尿病予防のための戦略研究」「自殺予防のための戦略研究」の研究実施団体等の関係者を対象に、そのテストランを実施した。

3. テストランに基づく、モニタリング実施上の問題点を修正することにより、モニタリング項目及び実施方法、および評価項目に関する提言を作成した。

（倫理面への配慮）

本研究は個人情報やヒト生体資料を扱うものでも、特定の個人を観察や介入の対象とするものではない。したがって、倫理面