

題として、間脳下垂体機能障害はふさわしい研究課題である。8部門において診断や治療に関するガイドラインの策定が行われている点は評価に値する。本研究グループのなかで、基礎的研究と臨床研究の融合が図られ、病態解明や治療法開発へ発展し、日本独自の診断や治療のガイドライン策定からさらなる展開の見られることが望ましいと結論された。

#### **F. 健康危険情報**

とくに該当なし

#### **G. 研究発表**

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

#### 『副腎ホルモン産生異常に関する調査研究』班

**研究要旨** 難治性疾患克服研究事業の研究班のうち、副腎ホルモン産生異常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重要性、本事業の主題に合致しているか、病因・病態の解明、臨床的意義、診断、治療、予防などへの応用性、今後の研究の将来性など観点から検討した。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、1)疫学調査、2)診断・治療ガイドライン作成、3)病態・成因の解明という3つのカテゴリーで見ると、1分野でのみ全国調査が行われ、診断・治療ガイドライン作成に関する研究が行われているのみであった。また基礎研究と患者を対象とした臨床研究で得られた知見との間に隔たりがある分野があり、基礎的研究を臨床的意義のあるものにするための研究、各研究グループが協力して研究を必要性のあることが明らかとなった。班全体としての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

高感度のホルモン血中濃度測定や画像診断技術の進歩により、副腎疾患の診断成績は向上し、疾病の検出感度も上昇している。また分子生物学的手法により、疾患の成因に迫る情報が得られるようになった領域もある。新しい検査・診断法や治療法が開発されても、これを個体の多様な病態にいかに対応するかで、有効性が異なるため、新技術に対する評価や適用基準の確

立が必要となっている。本研究事業に趣旨から、このような現状に一定の知見を与えるような全国レベルでの統一見解が作成されることが望まれる。本研究では、このような疾病の特徴と社会の要求に合致した研究がなされているかに着目して、一定の評価法に基づいて、平成17年度までの副腎ホルモン産生異常に関する調査研究についての評価を行い、評価結果の検討も行った。評価法については3名の内

科系専門医に評価をいただき、そ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。

## C. 研究結果

### Ⅰ. 研究事業全体と関連した項目について

分子生物学的手法に基づく病態の解明や、本邦における患者を対象とした研究については一定の成果が得られている。一方、基礎的な研究のなかに、研究成果が本疾患克服にどのような意義を持つかについて、不明瞭な研究も認められた。また研究グループ全体として、基礎研究と臨床研究の間に隔たりがある部分があり、今後これらをつなぐような研究の実現が期待された。また副腎偶発腫瘍について診断や治療に関するガイドライン作成に関する研究はなされたが、その他の疾病について、新知見を加えて update された日本独自の診断や治療に関する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。

### Ⅱ. 個々の研究課題についての項目

いずれの研究も個々の研究については一定の成果が得られている。しかし、基礎的研究において、臨床応用への方向性が不明瞭な研究が散見された。患者そのものに対する負荷試験や機能試験、画像診断や治療に関する検討など、すぐに応用可能な研究は本事業の趣旨に合う内容である。副腎偶発腫瘍の診断・治療指針の完成も本事業の趣旨に合う内容であり、新知見を加えた update でわが国独自の内容を盛り込んだ指針策定が期待される。今後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、応用の領域へ、より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

質の高い論文や学会での発表が行われ、積極的に研究が進められているグループもある。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

高感度のホルモン血中濃度測定、画像診断技術の進歩、分子生物学的手法により、新しい検査・診断法や治療法が開発されても、これを個体の多様な病態にいかに対応するかで、有効性が

異なるため、新技術に対する評価や適用基準の確立が必要となっている。また日本人と欧米人は民族や生活習慣が異なるため、欧米の研究成果がそのままわが国には適応できない場合もある。病因・病態が十分に解明されておらず、有効な診断法、治療法や予防法の開発と、新しい診断法や治療法に対する全国レベルでの統一が期待される。

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、さらに医療行政に貢献することを目的とする。

今回の評価法を用いて詳細に評価を行ってみると、診断や治療に関するガイドライン作成に関する研究がなされている分野がある一方で、本症の病因、病態の解明といった基礎的研究と、本症患者の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分野も認められた。対象となる疾病を持つ患者そのものを対象とする研究を充実させ、負荷試験や機能試験や画像診断に関する研究から得られた知見から、基礎的研究を見るという視点で、より臨床応用に近い研究や、基礎研究と臨床研究の橋渡し研究を考える必要がある。また本研究事業の対象となるより多くの疾病においてわが国に

おける診断、治療、予防などに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

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。しかし、その内容については基礎的研究から臨床的研究への発展が期待される。また本研究事業の対象となるより多くの疾病においてわが国における診断、治療、予防などに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。

## F. 健康危険情報

とくに該当なし

## G. 研究発表

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』班

**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、本研究事業の趣旨である中枢性摂食異常症の診断、治療、予防などへの臨床的有効性が明確でないものが多く認められた。特に基礎的研究の中に研究で得られた知見と中枢性摂食異常症患者へ還元できる可能性との間に隔たりが認められるものがあつた。また各研究グループが協力して研究を行うことで、基礎研究と臨床研究をつなぐことや、全体としての統一性を持たせる必要性のあることが今後の課題で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 17 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。

## C. 研究結果

### Ⅰ. 研究事業全体と関連した項目について

本邦における疾病の実態調査や分子遺伝学的手法に基づく病態の解明について、一部の研究については評価に値するものが認められた。その中でグレリンは functional dyspepsia についての研究はなされているが、中枢性摂食異常症に関する研究はいまだ準備段階であり、今後の展開が期待される。全体として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。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。

### Ⅱ. 個々の研究課題についての項目

一部の研究においては研究内容が評価に値するものもある。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多く見られた。また本研究事業の趣旨から考えて、中枢性摂食異常症患者を対象とした疫学的研究や、我が国の患者の実態を明らかにするような研究に重点がおかれることが期待される。臨床的研究と基礎的研究と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目を向けるようにとの指摘があった。例えば病態の解明や生理学的意義を明らかにする研究がなされた場合、それがさらに実際の疾病の診断、治療や予防のいずれにどのような成果として反映されるかを明らかにする必要がある。細胞や実験動物を用いた仕事や遺伝子を扱う研究により得られた成果からは、ヒトの疾病の病態解明や診断や治療への適応を引き続き研究していく必要がある。本来は本研究グループで個々の研究班が出した成果を基礎に、後半では相互に情報を交換して融合させたり発展させたりして、より応用的研究に結び付けられることが期待される。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

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、その病因を解明して診断法や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。

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。とくにグレリンに関する研究はこれまでに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。総括研究報告は、これまでの研究成果を包括して、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について、げっ歯類の研究と、

functional dyspepsia および神経性食思不振症患者の臨床的研究結果の現時点でのまとめを出して、成因、病態解明、診断、治療などの観点から、中枢性摂食異常症とグレリンとの関係に関する一定の知見を記載するべきである。

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

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。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

G. 研究発表

なし