

平成 19 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）
「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」班
総合研究報告書

難治性皮膚疾患(重症多形滲出性紅斑を含む)の画期的治療法
に関する研究班の検討

研究要旨

難治性疾患克服研究の研究班のうち難治性皮膚疾患(重症多形滲出性紅斑を含む)の画期的治療法に関する研究班の平成 16-18 年に行われた研究事業全体に関連した項目、それぞれの研究課題独自の項目、さらに研究発表の 3 項目について総合的かつ客観的な評価を行った。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業では、本来原因不明で治療法が確立していない希少疾患に対して、患者の経済的救済と同時に病因を解明し、診断法や治療法の開発を行い、それによって患者の予後やQOLの改善を目指すことが目的である。本研究では、評価者が専門領域とは異なる班研究を担当し、この目的に合致した調査研究が 3 年間の研究期間内に適切かつ計画的に遂行されたかを評価することを目的とした。

B. 研究方法

一人の評価者が、継続的に難治性皮膚疾患(重症多形滲出性紅斑を含む)の画期的治療法に関する研究班を担当した。評価は、難病の診断と治療指針改訂版、各研究班のホームページ、各研究班および重点研究班の平成 16-18 年度の業績報告書、および各班より提出されたアンケートに基づいて、研究班全体、個別研究、

そして個々の課題・研究発表の側面から行った。具体的な評価項目は、疾患の定義、診断基準の策定、正確な診断方法、発症率・有病率の把握、病態の解明と現状、治療方針ガイドラインの策定と記載状況とした。

C. 研究結果

1) 研究事業全体と関連した項目：栄養障害性先天性表皮水疱症（重症多形滲出性紅斑を含む）などの難治性皮膚疾患を対象としている。SJS と TEN の疫学調査登録票が作成、診断基準に関しては SJS/TEN/DIHS に関する特異性の高い診断基準が作成され、全国レベルでの発症率・有病率に関する調査体制の整備が進捗している。重症度分類に関しては、重症多形滲出性紅斑・中毒性表皮壊死症の重症度スコア、治療指針案が作成された。治療に関連した研究と比較し、病態解明を目指した研究の割合は比較的 low 留まっている。

2) 個々の研究課題について：研究の目標と、そのに向けた研究計画は極めて妥当であり、得られた結果は、現実的に臨床応用できる可能性が高いものである。報告書に記載された論文と報告書の内容からは、研究は順調に進捗していると考えられる。病態解析、病因解明、治療法の開発のバランスはよく、研究全体の連携と整合性が取れている。近い将来治療に役立つ可能性が高い皮膚移植に関する研究は評価でき、患者の QOL 改善に貢献すると考える。病因の解明、病態の解析に関してはより深い検討が望まれる。行政への貢献は今後の課題である。3) 個々の課題・研究発表などに関する評価：論文発表数については一定数の報告はなされている。質も比較的高く研究の目的に適合する発表が多い。しかし、本研究事業に基づくものであることが記載されている論文は半数以下である。

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、その病因を解明し手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。今回報告者が担当した疾患の中には、医療の進歩により発見される頻度が増加し手新たな対応を求められる局面が増加しているものもあり、一定の診療指針、治療法や予防法が未だ確立していないという点では、本研究事業の要素を維持しているといえる。各領

域の疾患については、その発症機序は少しずつ明らかにされつつあるが、真の病因は不明であり、根治的治療法の臨床施行が可能になるには、まだ多くの研究が必要といえる。これまでに明らかにされた予後、QOL に関する調査結果からは、難治例もそれなりに存在し、原因の究明と治療の開発・改良のための研究がさらに必要と思われる。現時点までに明らかとなったその発症頻度・研究班の activity / 実績を考慮すると、これらの疾患に対して、難治性疾患研究事業の枠で研究を推進していく意義はあるものと考えられた。

E. 結論

難治性皮膚疾患の画期的治療法に関する調査研究班重症多形滲出性紅斑・中毒性表皮壊死症の重症度スコア、治療指針案が作成された点、継続された個別研究では明らかな進捗が見られている点が評価できる。

F. 研究発表・学会発表

該当事項無し

G. 健康危険情報

該当事項無し

H. 知的財産権の出願・登録状況

該当事項無し

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

総合研究報告書

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

「脊柱靱帯骨化症に関する調査研究」班

研究要旨 厚生科学研究事業が適正に行われているかについて検討を行った。平成 16～18 年度の研究報告について調査した。その上で、研究の方向性についても 2～3 の重要なポイントを呈示した。

A. 研究目的

厚生労働科学研究は難病に罹患した患者の治療向上に結びつく事業でなければならない。したがって疫学、臨床研究が主体となるべきである。したがって本研究事業では

1. 疾患の定義
2. 診断基準の策定
3. 正確な診断方法の確立
4. 発症率、有病率の把握
5. 病態の解明
6. 治療ガイドラインの策定

が大切であり、この基準に適合しているかどうかを判断する。

B. 研究方法

例年と同様の研究方法で評価を行った。

C. 研究結果

(1) 扱われている疾患が本研究事業における研究対象として適切か。

1984 年の旧厚生省研究班の調

査では特定疾患としての OPLL の全国推定有病率は人口 10 万人対 6333 人である。日本の成人住民を対象とした X 線像での頸椎 OPLL 頻度は 1.8-4.1% で、欧米人に比して高頻度であることがわかっている。全国に当てはめると約 700 万人となり、希少性という範疇にはあてはまらない。原因不明性という点では関連遺伝子はいまだに発見されていないが、糖尿病がリスクファクターになることは以前から知られている。治療法未確立という点に関しては、いろいろな手術法が検討され、すでに治療法は確立している。

(2) 研究事業として班構成が適切か。

長期経過した班の特徴の一つとして、全国 34 の大学教授が班員になっている。これは整形外科なら OPLL を扱うという意味で、かならずしも不適切とは言えないが、本当にリーダーシップを発揮して研究者を絞ったかと言う意味において、疑問である。

(3) 診断・治療ガイドライン策定など難病研究に資するかどうか。

診断ガイドラインはX線で診断が容易なこともあり、1980年代に作成され、現在でもそれが使われている。また治療ガイドライン策定は2005年におこなわれた。

(4) 科学的な観点から優れた研究内容かどうか。

現在は自分のところの手術成績あるいは遺伝子同定の研究が主体であり、優れているとは言いにくい。

ただ、OPLLの一般向け診療ガイドライン策定に関する研究は目新しい研究である。

(5) 研究の成果はどうか。

長い年度にわたる研究の成果により、現在ではほぼ治療法が確立したと言って良い。

(6) 総合的な評価

総合的に考えて、ほぼ使命を終えた研究班と考える。

採点

I. 研究事業全体と関連した項目
脊柱靭帯骨化症に特化した研究班である。(2)

発病率・有病率についての検討は報告されていない。(0)

日本人に多い疾患であるが、遺伝子解析をおこない、TGFB3 遺伝子で有意な

相関を認めた。(2)

診断基準に関する研究はない。(0)

重症度分類についての研究もない。

(0)

治療ガイドラインの策定に関してであるが、一般向けの診療ガイドラインが完成した。(2)

国際的な分類との比較は行われていない。(0)

我が国に特に多い疾患と知られている。(1)

難病情報センターへの公表は良好とは言えない。(1)

今後、一般向けの診療ガイドラインと整形外科学会のガイドラインとの整合性を図る必要がある。(1)

病態の解明につながる研究として神経症状発現予測因子の研究がある。

(2)

II. 個々の研究課題について

研究課題をみると、ほとんどが自分の施設での成績に終わっている。(1)

目標達成へのロードマップが明確にされていない。(0)

治療面・病態・病因解明に関して、著しくはないが、進捗しているものと考ええる。(2)

班研究全体の具体的目標が明らかに設定されていないので、個々の研究の意義がやや不明確のそしりを免れない。班長はもっと指導性を発揮し、口

ードマップを作成する必要がある。そして、最近の発症率・有病率の把握、発症や進展に関わる環境・遺伝因子、診断基準の改訂、重症度分類の策定、国際定期的な分類との対比、我が国の特殊性、難病情報センターとの密接な関連などを図るべきである。(0)

研究の成果に関しては一般向け診療ガイドラインが出来たことは特記すべきである。(2)

患者の福祉という面では、みるべきものはない。(0)

病因の解明、病態の解析も同様である。

(0)

行政への貢献については、一般向け診療ガイドラインが役に立つであろう。

(2)

研究の倫理性についてはおおむね遵守されている。(2)

Ⅲ. 個々の課題、研究発表等に関する評価

多くの論文が挙げられている。(2)

しかしながら、いずれも整形外科関連の雑誌あるいは本であり、質という意味ではかならずしも保証されていない。(1)

脊柱靱帯骨化症に関する調査研究という意味では、適合している。(2)

本研究に基づくものであることの記載が少ない。(1)

D. 考察

これまで厚生労働科学研究難治性疾患克服研究事業については、

1. 今後の特定疾患研究の在り方について

○ 特定疾患を克服するため、治療法の確立や予後の改善等、明確な目標を設定した上で、研究内容・研究体制の大幅な充実を図ることが必要。

○ 疾患ごとに研究の進捗状況、治療成績、罹患している患者の実態に関する評価システムを構築し、研究成果についての定量的な評価の実施が必要。

2. 今後の治療研究事業の在り方について（費用負担を含む）

○ 治療研究事業は、今後も研究事業としての性格を維持することが適当。

○ 研究事業としての明確な目標の設定と事業評価の実施が必要。

○ 制度の適正化や安定化に向けて、疾患の特性、患者の重症度や経済的側面等を考慮するとともに、一部自己負担の考え方や事業規模等についても整理が必要。

○ 法制化については、事業の根拠が明確となる長所や柔軟な制度の運営が阻害される短所等から賛否両論があり、今後も検討が必要。

3. 今後の特定疾患の定義と治療研究対象疾患の選定の考え方

○ 今後も(1)症例数が少ない、(2)原因不明、(3)効果的な治療法未確立、(4)生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)の4要素を維持することが適当。

○ 研究対象とすることが必要な疾患を治療研究事業の対象とし、必要性が相対的に大きく減った疾患については、見直しを行うべきとの意見があった。

○ 原因者が明確な健康被害に起因する疾患については、これまでの経緯を尊重して、目的を明確化した別の制度を確保するなど、患者に対するサービスの低下が生じないよう配慮の上、移行することを検討すべきとの意見があった。

4. 今後の難病にかかる福祉施策の在り方について

(1) 介護保険制度や、見直しに向けて検討が行われている「障害者基本計画」や「障害者プラン」との整合性を考慮した福祉施策の検討が必要。

(2) 利用者の利便性やサービスの効率性にも配慮した福祉施策の在り方について検討が必要。

(3) 難病患者の日常生活における自立状態や変動する患者の重症度を十分に勘案した福祉施策の検討が必要。

この線に沿って各班には疾患の定義、診断基準の策定、正確な診断方法の確立、発症率・有病率の掌握、病態の解明、治療ガイドラインの策定が求められている。

厚生労働科学研究は難病に罹患した患者の治療向上に結びつく事業でなければならない。したがって疫学、臨床研究が主体となるべきである。したがって本研究事業では

1. 疾患の定義
2. 診断基準の策定
3. 正確な診断方法の確立
4. 発症率、有病率の把握
5. 病態の解明
6. 治療ガイドラインの策定

が何よりも大切である。

今後は治療法が無い疾患では患者様の福祉を重視した研究と治療法が有る疾患では治療ガイドラインをさらに新たなものに変えていく努力が必要になろう。

それとともに、全体に遅れているが病期あるいは重症度分類を行うことと医療区分3に相当するADLに至るまでの時間あるいは生命予後を各疾患で算出していただきたい。

E. 結論

脊柱靭帯骨化症は現在のままの体勢では不十分である。班長がもっとり

リーダーシップを発揮するか、あるいは大きな組み替えが必要である。さもなければこの研究班はその使命を終えたものとする。

F. 健康危険情報

なし。

G. 研究発表

なし。

H. 知的財産権の出願・登録

なし

平成17-19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)
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
総合研究報告書

「特発性大腿骨頭壊死症の予防と治療の標準化を目的とした総合研究」班

研究要旨

難治性疾患克服研究の評価のために、一定の評価表をもとに、特発性大腿骨頭壊死症に関する調査研究事業を評価した。疾患の定義を明確にして研究事業をおこなっているが、とくに全体研究には、3年間の研究事業期間で達成できることへ向けたロードマップの作成が必要である。なお、個別研究については補助金への謝辞が一部にしか認められず、徹底が必要である。

A. 研究目的と方法

難治性疾患克服研究の評価のために、一定の評価表をもとに、特発性大腿骨頭壊死症に関する調査研究事業を評価した。

B. 研究結果と考察

特発性大腿骨頭壊死症の予防と治療の標準化を目的とした総合研究は、京都府立医科大学の久保俊一教授が主任研究者である。公費対象としては、特発性大腿骨頭壊死症、公費対象外の特定疾患としては特発性ステロイド性骨壊死症を主な研究対象としている。研究班は、主任研究者の下、病態・予防・治療などでサブグループに分かれ、全体研究が実施され、目標の達成度を示すなど、全体研究は着実に進捗している。個別研究についても、発症機序や治療法の開発に向けた研究があるが、一方、一例報告も散見される。また、謝辞については不十分である。

C. 結論

疾患の定義を明確にして、研究事業をおこなっているが、とくに全体研究には、3年間の研究事業期間で達成できることへ向けたロードマップの作成が必要である。なお、個別研究については補助金への謝辞が一部にしか認められず、徹底が必要である。

D. 研究発表

1. 論文発表
なし
2. 学会発表
なし

E. 知的所有権の取得状況

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし

平成 17-19 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）

「進行性腎障害に関する調査研究」

研究要旨

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「進行性腎障害に関する調査研究」が本研究事業として妥当かどうか、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、研究期間中に提出された研究報告書に基づいて調査した。評価に当たっては、本調査研究班で新たに作成した客観的かつ公正に調査研究を評価しうる評価票を用いた。

A. 研究目的

わが国の難治対策は昭和 47 年に策定された「難病対策要綱」に基づいており、希少な難治性疾患の実態を把握し、その原因究明や治療法の確立を目的として難治性疾患克服研究事業（旧特定疾患対策研究事業）が推進されてきた。本研究事業は大きな成果を挙げてきたが、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たこと等により、疾患によってはもはや“難病”でなくなったと思われるものも散見されるようになった。

そこで本研究班は、新たに作成した評価票を用いて、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した。

B. 研究方法

疾患の定義と頻度、診断基準や重症度の策定、ならびに治療ガイドラインの策定・改定、病態の解明等、研究事業全体と関連した項目については、「難病の診断と治療指針（疾病対策研究会・編、六法出版社）改訂版 1～4」を参考にした。

本年度の個々の研究課題の研究内容については、「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班（清野裕主任研究者）」が作成した標準化した評価票を用いて、総括・分担研究報告書の内容から検討した。研究の方向性については難治性疾患克服研究事業を推進するにあたって特に重要と思われる点を指摘した。各項目のチェックポイントと配点は以下のとおりである。

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

- i) 発症率や有病率を明らかにしたか
- ii) 環境・遺伝子の解明をめざしたか

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

- i) 策定と改訂作業が行われたか
- ii) 国際分類との対比が行われたか
- iii) わが国の特殊性が配慮されたか
- iv) 難病情報センターなどへの公表がなされていたか

v) 関連学会ガイドラインとの整合性がはかられたか

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

目標達成に向けてロードマップが示されているか

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

代表者の指導性により研究全体の連携と整合性が取られているか

⑤ 研究成果

治療に役立つか

患者の福祉に役立つか

病因の解明に役立つか

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 受理された論文・発表数

これまでに少なくとも受理された研究成果があったか

② 論文・発表の質

③ 本研究事業への適合性

④ 本研究事業名の記載

本研究事業に基づくものであることが acknowledge されていたか

C. 研究結果と考察

本研究班は約 40 名という数多い研究者が 7~8 の分科会に分かれて研究を行ってき

た。この間、分科会の見直しや研究者の交代などがあった。平成 18 年度には、IgA 腎症分科会、急性進行性糸球体腎炎 (RPGN) 分科会、難治性ネフローゼ症候群分科会、多発性嚢胞腎 (ADPKD) 分科会、遺伝子操作動物による進行性腎障害疾患モデル開発に関する研究班、疫学に関する調査研究班、難病特別研究班の 7 分科会に整理された。研究班全体の目標として、分科会ごとの診療基準や治療指針の見直し、RPGN の発症機序や遺伝因子の解明と治療法の確立、等が挙げられた。

I. 研究事業全体と関連した項目

IgA 腎症、RPGN、難治性ネフローゼ症候群、ADPKD、と、いずれも定義が確立した疾患を対象にしている。発症率や有病率を検討した研究は行われなかったが、いくつかの重要な全国調査が進行中である。

RPGN に関しては診療指針が作成され、病型分類が示された。また、小児 IgA 腎症の治療ガイドラインが作成され、軽症と重症の定義がなされた。治療ガイドラインの策定や改訂は行われなかったが、これに資する全国調査が継続して行われている。

病態解明に関する研究が、それぞれの分科会で行われた。

分科会内でのまとまりがみられ、多くの業績が残されたが、その多くは基礎的研究である。疫学研究の成果が行政に反映されることが期待される。約 70% の個別研究で倫理面での配慮について記載されている。

II. 個々の研究課題について

疫学研究班はもとより、IgA 腎症分科会、難治性ネフローゼ症候群分科会及び ADPKD 分科会が全国規模の予後調査を精力的に進めている。IgA 腎症分科会では、この疾患に対する ARB の腎保護作用に関する無作為割付多施設共同臨床研究を全国調査として

企画した。患者の登録は増加しているもののまだ十分でない。さらに、IgA 腎症の予後規定因子に関する後ろ向き研究が新たに開始された。これらの結果は、本疾患の診療指針における予後判定基準の見直しに反映されることになる。

以上の疫学研究では、症例のエントリーは徐々に増加しているが、いずれも 50 例程度で、全国調査としては心もとない。これら分科会が協力して、症例登録を推進する仕組みを考慮されてはいかがだろうか。

一方、RPGN 分科会は、平成元年に開始された RPGN の全国調査で集計された 1571 例について、病型、検査所見、死因、予後を解析した。これらの検討から、本疾患の診断指針の改訂作業が開始されるという。

遺伝子操作動物による進行性腎障害疾患モデル開発に関する研究班では、Cre-LoxP システムを用いたトランスジェニックマウスを作製した。今後交配により、新たなモデルマウスを作製する予定である。進行性腎障害疾患モデル開発に関する研究班は基礎研究が主体であるが、この分科会以外は、おおむね 80% が臨床研究であった。

難治性ネフローゼ症候群分科会は、前年度より分科会としてのまとまりが出てきたように思われる。この他、RPGN 分科会では疾患の実態と治療の有用性の検討を行った。難病特別研究班ではループス腎炎を示す全身性自己免疫疾患モデルの New Zealand 系マウスで、Fcgr2b 遺伝子の発現性の異常が自己寛容の破綻に重要な役割を示していたことを明らかにするなど、優れた研究成果

が報告された。

以上のように、本研究班は 7 つの分科会において、それぞれの疾患について、基礎的・臨床的研究を進めるとともに、全体としてガイドラインの改訂など共通の目標を立てている。基礎研究についても、疾患ごとの実態把握、治療と病因解明に向けて、少しずつ進捗していると判断する。

III 研究発表等に関する項目 (4/8)

受理された論文・発表数は約 50 編にとどまるが、論文の質は一定のレベルが保たれている。多くの研究業績で、本研究事業名の記載がない。また、学会報告すらしていない個別研究課題も散見されることが惜しまれる。

E. 結論

各分科会において、最新のエビデンスに基づいて、診療基準や治療指針の見直しを行うことが第 1 の目標として挙げられたが、必ずしも足並みがそろわなかった。本研究の事業として、包括的かつ簡便なガイドラインの策定が期待される。RPGN の発症機序や遺伝因子の解明と治療法の確立に向けた研究が進んでおり、それらが診断基準や治療ガイドに反映されることが期待される。

F. 研究発表 なし

G. 知的財産権の出願・登録状況 なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

総合研究報告書

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

「スモンに関する調査研究」班

研究要旨 厚生科学研究事業が適正に行われているかについて検討を行った。平成 16～18 年度の研究報告について調査した。その上で、研究の方向性についても 2～3 の重要なポイントを呈示した。

A. 研究目的

厚生労働科学研究は難病に罹患した患者の治療向上に結びつく事業でなければならない。したがって疫学、臨床研究が主体となるべきである。したがって本研究事業では

1. 疾患の定義
 2. 診断基準の策定
 3. 正確な診断方法の確立
 4. 発症率、有病率の把握
 5. 病態の解明
 6. 治療ガイドラインの策定
- が大切であり、この基準に適合しているかどうかを判断する。

B. 研究方法

難病の診断と治療指針（疾病対策研究会・編、六法出版社）改訂版 1～4 により、疾患の定義、診断基準の策定、ならびに治療ガイドラインの策定状況について調査した。

個々の研究班は平成 16～18 年度報告書を読み、一つ一つの研究について

昨年度と同様の手法で判定をおこなった。

研究の方向性については難治性疾患克服研究事業を推進するにあたって、とくに重要と思われる点を指摘した。

C. 研究結果

この班は特殊である。いわゆる難病の治療研究をおこなう班ではない。

この班はとくに患者の福祉にもっと目を向けるべきである。この疾患はすでに終わっているわけで、これ以上悪化することはagingを除いてはないだろう。

（1）扱われている疾患が本研究事業における研究対象として適切か。

希少性はともかくとして、原因不明性に関してはキノホルム摂取ということがすでに明らかになっている。治療法未確立という点も、すでにキノホルムが体内から排泄されるにつれ、後遺症としては残ったが、少しずつ症状

は改善していった。たとえば、視力が著しく低下した例も少しずつ改善していったし、しびれも同様である。生活への長期の支障ということに対しては、確かに難病に値する。

(2) 研究事業として班構成が適切か。

班構成を見ると、47都道府県から神経内科医が選ばれており、確かに特異な班だという印象を受ける。

(3) 診断・治療ガイドライン策定など難病研究に資するかどうか。

ガイドラインは昭和45年(1970年)5月に旧厚生省スモン調査研究協議会で定めたものがそのまま踏襲されている。

(4) 科学的な観点から優れた研究内容かどうか。

これについては、まったくと言って良いほど新規の研究はおこなわれていない。

(5) 研究の成果はどうか。

主任研究者は次の目標を設定している。

- a. スモン患者の全国健診の実施による現状の把握
- b. 合併症の把握とその対策
- c. 加齢にともなうADL変化の解析と、リハビリテーションの確立。
- d. 対症療法の確立。
- e. 心理機能、認知機能の検討と、QOLの向上対策。
- f. 介護に関する問題の検討。

g. スモンの風化防止、啓蒙活動。

しかしながら、実際におこなわれているものは、一年に一回の健康診断に過ぎないようである。

(6) 総合的な評価

SMONという名前は残すとしても、近年あらたに問題となっている毒物、薬物中毒とくに神経関連の疾患は枚挙にいとまがない。

たとえば、有機リン中毒、ヒ素中毒、サリン中毒などである。その他ではソマン中毒、VX、マスタードガス、ホスゲン、BZ、チクロンB、リシンや可能性のあるものとしてはポロニウムなどがあげられる。

これらは症例数も少なく、機器も高価で、個人の研究では成果もおぼつかないことが多い。ここにこそ、国費をつぎ込む必要があることは数年来申し上げているとおりである。少なくとも診断・治療ガイドラインを策定するぐらいのことはあっても良いと思われる。

採点

- I. 研究事業全体と関連した項目
スモンを対象としている。(2)
発症率・有病率の把握のための研究はなかった。(0)
また、発症や進展に関わる環境・遺伝子の解明を目指す研究もなかった。(0)
診断基準の改訂につながる研究はな

かった。(0)
重症度分類の改訂につながる研究は
なかった。(0)
治療ガイドラインの策定・改訂に関し
て、治療ガイドライン、国際的な分類、
我が国の特殊性、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
などに関する研究はなかった。
病態の解明を明らかにする研究はな
かった。(0)

Ⅱ. 個々の研究課題について

スモン患者の臨床に役立つ研究であ
った。(2)

目標達成へのロードマップは明らか
でない。(0)

進捗状況は評価できない。(0)

班長の指導性もうたがわしい。(0)

研究の成果に関して、治療には役立つ
ている。(2)

患者の福祉にはある程度は役立って
いる。(2)

病因・病態の解明にはつながらない。
(0)

行政への貢献度は100%と思われる。
(2)

研究の倫理性は十分に考慮されてい
る。(2)

Ⅲ. 個々の課題、研究発表等に関する 評価

研究発表は少なく、またその質も低い。

本研究の目的にそぐわない報告もあ
る。

本研究に基づくものであることは、必
ずしも記載されていない。

(その他コメント)

本研究班は、例年繰り返し申し上げて
いるとおり、改訂するべきである。
薬剤による思わざる疾患は数多いし、
神経症状を出すものもある。これら新
しい疾患を組み入れることが急務と
思われる。

D. 考察

これまで厚生労働科学研究難治性
疾患克服研究事業については、

1. 今後の特定疾患研究の在り方につ
いて

○ 特定疾患を克服するため、治療法
の確立や予後の改善等、明確な目標を
設定した上で、研究内容・研究体制の
大幅な充実を図ることが必要。

○ 疾患ごとに研究の進捗状況、治療
成績、罹患している患者の実態に関す
る評価システムを構築し、研究成果に
ついての定量的な評価の実施が必要。

2. 今後の治療研究事業の在り方につ
いて(費用負担を含む)

○ 治療研究事業は、今後も研究事業
としての性格を維持することが適当。

○ 研究事業としての明確な目標の設定と事業評価の実施が必要。

○ 制度の適正化や安定化に向けて、疾患の特性、患者の重症度や経済的側面等を考慮するとともに、一部自己負担の考え方や事業規模等についても整理が必要。

○ 法制化については、事業の根拠が明確となる長所や柔軟な制度の運営が阻害される短所等から賛否両論があり、今後も検討が必要。

3. 今後の特定疾患の定義と治療研究対象疾患の選定の考え方

○ 今後も(1)症例数が少ない、(2)原因不明、(3)効果的な治療法未確立、(4)生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)の4要素を維持することが適当。

○ 研究対象とすることが必要な疾患を治療研究事業の対象とし、必要性が相対的に大きく減った疾患については、見直しを行うべきとの意見があった。

○ 原因者が明確な健康被害に起因する疾患については、これまでの経緯を尊重して、目的を明確化した別の制度を確保するなど、患者に対するサービスの低下が生じないよう配慮の上、移行することを検討すべきとの意見があった。

4. 今後の難病にかかる福祉施策の在り方について

(1) 介護保険制度や、見直しに向けて検討が行われている「障害者基本計画」や「障害者プラン」との整合性を考慮した福祉施策の検討が必要。

(2) 利用者の利便性やサービスの効率性にも配慮した福祉施策の在り方について検討が必要。

(3) 難病患者の日常生活における自立状態や変動する患者の重症度を十分に勘案した福祉施策の検討が必要。

この線に沿って各班には疾患の定義、診断基準の策定、正確な診断方法の確立、発症率・有病率の掌握、病態の解明、治療ガイドラインの策定が求められている。

厚生労働科学研究は難病に罹患した患者の治療向上に結びつく事業でなければならない。したがって疫学、臨床研究が主体となるべきである。したがって本研究事業では

1. 疾患の定義
 2. 診断基準の策定
 3. 正確な診断方法の確立
 4. 発症率、有病率の把握
 5. 病態の解明
 6. 治療ガイドラインの策定
- が何よりも大切である。

E. 結論

スモンの研究班は再構成が急務である。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

なし

H. 知的財産権の出願・登録

なし