

研究班名	網膜脈絡膜・視神経萎縮症 に関する調査研究
研究代表者名	小椋 祐一郎
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	1
発症率・有病率の把握 (2)	2
診断基準・重症度分類の策定 (4)	4
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	1
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	1
他の研究との重複 (2)	2
得点(分子)	15
総点(分母)	20
100点満点中の点数	75.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	1
研究代表者の指導性 (2)	1
研究成果 (8)	7
行政への貢献度 (2)	1
倫理性 (2)	2
得点(分子)	14
総点(分母)	18
100点満点中の点数	77.8

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	2
事業名の記載 (2)	0
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	8
総点(分母)	10
100点満点中の点	80.0

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
—聴覚・平衡機能系疾患（前庭機能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ひとつ、「前庭機能異常に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。その結果、本研究班は、メニエール病と遅発性内リンパ水腫を主な対象としている。2008年にメニエール病の診断基準が改訂された。これは、1974年以來である。新たな知見を取り入れ、他科の医師にもわかりやすいように配慮、非定型例に明確な基準を設定、米国との整合性を考慮しながら本邦独自の基準としている。治療ガイドラインについても、作成中である。病態に関する研究・治療法開発のための基礎的研究・診断向上が個別研究として行われている。半分程度の論文に、謝辞がされている。研究代表者のリーダーシップで、診断基準を改訂し、治療ガイドラインの策定に取り込もうとしており、成果が期待できる。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common diseaseと同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、こ

のため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「前庭機能異常に関する

る調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性について提言することを目的とした。

B. 研究方法

- (1) 本研究班から提出された 2008 年度の報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として本研究班の評価をおこなった。
- (2) 難治性疾患克服研究事業において作成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の 3 つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。
- (3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

本研究班は、メニエール病と遅発性内リンパ水腫を主な対象としている。2008 年にメニエール病の診断基準が改訂された。これは、1974 年以來である。新たな知見を取り入れ、他科の医師にもわかりやすいように配慮、非定型例に明確な基準を

設定、米国との整合性を考慮しながら本邦独自の基準としている。諸方面の意見を参考にして必要な修正を加える予定としている。治療ガイドラインについても、具体的なロードマップは明示されていないが、作成中である。病態に関する研究として、内耳血流障害に関連したメニエール病モデル動物の作成などが行われた。治療法開発のための基礎的研究として、動物を用いた内耳内投与に関する検討などが行われた。診断向上のための基礎的研究として、内リンパ水腫の画像診断や眼球運動画像解析法などが行われた。また、有酸素運動・水分摂取療法など、種々の治療法の臨床応用が報告されている。半分程度の論文に、謝辞がされている。

D. 考察

メニエール病の診断基準は 1974 年に作成されて 30 年以上が経過していたが、今回改訂された。また、治療ガイドラインについても、準備中であり、成果が期待される。研究内容としては異なるが、急性高度難聴に関する調査研究班でも内リンパ水腫画像診断に関する研究が進行しており、協力体制の構築が望まれる

E. 結論

研究代表者のリーダーシップで、診断基準を改訂し、治療ガイドラインの策定に取り込もうとしており、成果が期待できる。

研究班名	前庭機能異常に関する調査研究
研究代表者名	渡辺 行雄
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	1
発症率・有病率の把握 (2)	2
診断基準・重症度分類の策定 (4)	4
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	2
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	2
他の研究との重複 (2)	2
得点(分子)	17
総点(分母)	20
100点満点中の点数	85.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	1
研究代表者の指導性 (2)	1
研究成果 (8)	7
行政への貢献度 (2)	1
倫理性 (2)	2
得点(分子)	14
総点(分母)	18
100点満点中の点数	77.8

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	2
事業名の記載 (2)	1
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	9
総点(分母)	10
100点満点中の点	90.0

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
—聴覚・平衡機能系疾患 (急性高度難聴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ひとつ、「急性高度難聴に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。その結果、本研究班は、急性高度感音性難聴(突発性難聴など)と進行性または慢性高度感音性難聴(遺伝性難聴など)を主な対象として、3年間の目標として、疫学調査・遺伝子異常の検出・QOLへの影響、バイオマーカー、鼓室内局所療法の検証で、診療基準の見直しと、診療ガイドラインの作成があげ、発病率や有病率の把握のための全国調査も2009年度に行われる予定である。多施設臨床研究や個別の臨床・基礎研究は順調に進捗しているものの、謝辞は1/5程度と少ない。研究代表者のリーダーシップで診断基準や治療ガイドラインの策定に取り込もうとしており、成果が期待できる。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common diseaseと同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象

疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「急性高度難聴に関する調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性

について提言することを目的とした。

B. 研究方法

- (1) 本研究班から提出された 2008 年度の報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として本研究班の評価をおこなった。
- (2) 難治性疾患克服研究事業において作成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の 3 つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。
- (3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

本研究班は、急性高度感音性難聴(突発性難聴など)と進行性または慢性高度感音性難聴(遺伝性難聴など)を主な対象としている。目標として、疫学調査・遺伝子異常の検出・QOLへの影響、バイオマーカー、鼓室内局所療法の検証で、診療基準の見直しと、診療ガイドラインの作成があげられている。発病率や有病率の把握

については、10 年毎の全国調査を実施しているが、2009 年度に行われる予定である。多施設臨床研究として、疫学調査・診断基準の見直し・遺伝子(SNP や GWAS)・バイオマーカーに加えて、単剤治療の臨床試験や難治例の追跡調査も企画されている。基礎研究として、難聴モデル動物の作成や内耳特異的タンパクと自己抗体の検索が企画されている。また、1/5程度の論文に、謝辞がされている。また、研究成果の刊行に関する一覧で、本研究事業と直接関連のないものも記載されている。ただし、関わりの深い刊行物には○をつけ、区別することはできる。

D. 考察

突発性難聴の診断基準には 1973 年に作成されてすでに 30 年以上が経過している。また、治療ガイドラインについても、現在ない。本研究班は、これらの改訂あるいは作成を目指しており、成果を期待する。これによって、発病率等の把握が進むであろう。研究内容としては異なるが、前庭機能異常に関する調査研究班でも内リンパ水腫画像診断に関する研究が進行しており、協力体制の構築が望まれる

E. 結論

研究代表者のリーダーシップで、診断基準や治療ガイドラインの策定に取り込もうとしており、成果が期待できる。

研究班名	急性高度難聴に関する調査研究
研究代表者名	小川 郁
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	2
発症率・有病率の把握 (2)	2
診断基準・重症度分類の策定 (4)	2
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	2
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	2
他の研究との重複 (2)	2
得点(分子)	16
総点(分母)	20
100点満点中の点数	80.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	1
研究代表者の指導性 (2)	2
研究成果 (8)	7
行政への貢献度 (2)	1
倫理性 (2)	2
得点(分子)	15
総点(分母)	18
100点満点中の点数	83.3

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	2
事業名の記載 (2)	0
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	8
総点(分母)	10
100点満点中の点	80.0

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

－ 循環器系疾患（特発性心筋症に関する調査研究班）－

研究要旨

本研究班は、数々の研究成果により本疾患の基礎的、臨床的病態を明らかにしてきた。過去に行われた診断・治療指針の策定も本研究班によるところが大きい。レベルの高い基礎研究が多く行われ全体の80%を占めたが、疫学や臨床研究、患者の福祉、行政への貢献という側面が十分でなかった。今後は、これまでの研究成果をふまえて、診断と治療のガイドラインが再検討されるなど、本研究事業としてのバランスが取れ、患者のQOLの向上がもたらされることが期待される。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common diseaseと同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、

各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「特発性心筋症に関する調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性について提言することを目的とした。

B. 研究方法

(1) 本研究班から提出された2008年度の報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として

本研究班の評価をおこなった。

(2) 難治性疾患克服研究事業において作成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の 3 つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。

(3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

特発性心筋症は、アルコール性心疾患や心筋炎など 2 次性心筋疾患とは別に扱われる原因不明の心筋疾患、と定義されており、病因の解明や有効な治療法の確立が急務な重要疾患である。従って、本研究事業の対象症例として適切である。

本年度は、新しい研究代表者のもと、本疾患の新たな診断の手引きの策定を目標として、①本疾患に関するエビデンスの整理、②クリニカルニーズの調査と整理、③エビデンスの創出、を行うことが示された。その達成のために、全体研究、サブグループ研究、個別研究の 3 つのレベルの研究班が構築された。

個別研究では、心筋症に関する各班員の先端的臨床・基礎研究が進められた。心不全の病態に関連して、インスリン抵抗性と酸化ストレスの役割あるいは、AGE、RAGE 系の役割が検討された。また、心筋リモデリングにおける転写因子 KLF5 の役割、拡張型心筋症の発症機序に関する研究、等が進められた。

疫学的研究に関しては、1976 年～1998 年に、本研究班によって全国規模の病院調査が施行され、人口 10 万人あたりの有病率が肥大型 17.3、拡張型 14.0 と推定されている。2007 年には、1999 年に実施された全国疫学調査 2 次調査対象症例の 5 年後の予後調査が施行された。

診断基準の策定等については、すでに 1986 年に「突発性心筋症診断の手引き」が作成されている。前年度に開始された「CCMM 研究」の成果により、診断基準の見直しを図る予定であるが、本年度の実績はない。重症度分類はすでに存在しており、年度内における改訂等の研究活動はない。本研究班は、WHO/ISFC 合同委員会との関連を示すなど、国際的な分類との対比を行ってきたが、その後の研究活動の記載はない。CCMM 研究の成果により治療ガイドラインの見直しははかられる予定である。

D. 考察

本研究班は、1974 年にスタートし数々の研究成果により本疾患の基礎的、臨床

的病態を明らかにしてきた。過去に行われた診断・治療指針の策定も本研究班によるところが大きい。しかし、特に近年は基礎研究が80%を占め、動物実験や遺伝子解析などの疫学や臨床研究、患者の福祉、行政への貢献という側面が十分でなかった。病態解明や将来の治療に役立つ最先端の業績が多いことから、研究の適合性はあるものの、国の他の研究事業として、よりふさわしいと思われる個別研究が多かった。

本年度からは、新たな研究体制が構築され、従来から行われてきた複合的研究や CCMM 研究の推進によって、新たな診断と治療法の開発を目指す予定とのことなので、本研究事業としてのバランスが取れ、これまでの研究成果により、患者の QOL の向上がもたらされることが期待される。

原著論文、総説等多く、平成 20 年度には英文論文 45 編が報告された。論文の質も高い。しかし、Acknowledgement はほとんど記載されていない。

なお、個別研究に記載された研究要旨は全てが複写である。研究成果を広く周知させるためにも、次年度からは、それぞれの研究要旨を記載して頂きたい。

E. 結論

多くの優れた研究業績のほとんどは基礎的研究であった。それらは、将来、臨床応用が望めるとはいうものの、患者の明日の治療に役立つ研究が少なすぎるように思われた。研究代表者の指導性が発揮されているので、次年度からのアウトカムが期待される。

研究班名	特発性心筋症に関する調査研究
研究代表者名	北風 政史
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	2
発症率・有病率の把握 (2)	1
診断基準・重症度分類の策定 (4)	0
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	0
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	2
他の研究との重複 (2)	0
得点(分子)	9
総点(分母)	20
100点満点中の点数	45.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	2
研究代表者の指導性 (2)	2
研究成果 (8)	4
行政への貢献度 (2)	0
倫理性 (2)	2
得点(分子)	12
総点(分母)	18
100点満点中の点数	66.7

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	1
事業名の記載 (2)	0
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	7
総点(分母)	10
100点満点中の点	70.0

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

—呼吸器系疾患 (びまん性肺疾患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ひとつ、「びまん性肺疾患に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。本研究班では特発性間質性肺疾患(IIPs)、サルコイドーシスおよび、びまん性汎細気管支炎(DPB)を研究対象としている。IIPsでは特定地域の疫学調査を行い、クオリティの高いデータを得ている。サルコイドーシスでは診療のガイドラインを策定し、評価される。個別研究に関してはゲノム研究などに方法論的に再検討の余地があると考えられた。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common diseaseと同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究につい

て、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「びまん性肺疾患に関する調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性について提言することを目的とした。

B. 研究方法

- (1)本研究班から提出された2008年度の報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として本研究班の評価をおこなった。
- (2)難治性疾患克服研究事業において作

成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の3つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。

(3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

- 疾患の定義および重要性
特発性間質性肺疾患 (IIPs)、サルコイドーシスおよび、びまん性汎細気管支炎 (DPB) が対象で、難治性疾患として重要なものが扱われている。
- 研究の目標、計画、および発症率、有病率の把握 (疫学研究)
IIPs に関しては、臨床調査個人票に基づく疫学調査を経年的に比較検討している点が評価できる。IIPs 以外の疾患に関しての疫学調査は今後の課題としている。サルコイドーシスは診断基準が新たに改訂となったことを受け、臨床調査個人票の改訂から開始する計画である。

急性増悪に関与する遺伝的疾患感

受性の研究に関しては、目標サンプル数が100から200例と少なく、パワー計算上も科学的な根拠のある検討がなされるとは考えにくい。この点の再考を要する。

- 治療ガイドラインの策定・改訂、ならびに関連学会等との整合性への努力
サルコイドーシスに関しては2004年に診断基準を策定、日本呼吸器学会を通じて普及している。重症度分類に関しては、日本呼吸器学会が中心となって行っている。IIPs に関しては、ガイドライン策定、重症度分類策定の取り組みが見られない。
- 難病情報センターなどへの公表
対応がなされている。
- 他の研究助成との重複
他の類似した班研究 (呼吸不全) 班が存在している。
- 倫理性の遵守
患者の自由意志を尊重、塔書きされているものの、各施設での倫理委員会に諮っているという明確な記載はない。

D. 考察

IIPs では補足率と重症度などの面での網羅性が見られる。正確である北海道の臨床調査個人票をもってサンプリング調査する方法をとっている点は、ユニークで評価される。

論文において acknowledgement を行う

た率も未調査であり、これに関する班の意識の低さが目立つ。

病態に関する研究が多くを占める。当研究事業の目的との整合性に注目する必要がある。

新しい治療法に関する検討では、薬剤介入試験により前向き研究として行うとすれば意義があることと考えられるが、具体的な研究目的とロードマップを明示

すべきである。

E. 結論

個別研究に関しては方法論的に再検討の余地があるが、全体研究として行っている。サルコイドーシスに関しては診断基準作成やガイドライン作成に取り組み、概ね良好である。

研究班名	びまん性肺疾患に関する調査研究
研究代表者名	杉山 幸比古
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	2
発症率・有病率の把握 (2)	2
診断基準・重症度分類の策定 (4)	2
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	2
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	2
他の研究との重複 (2)	1
得点(分子)	15
総点(分母)	20
100点満点中の点数	75.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	1
進捗状況 (2)	2
研究代表者の指導性 (2)	2
研究成果 (8)	5
行政への貢献度 (2)	1
倫理性 (2)	0
得点(分子)	11
総点(分母)	18
100点満点中の点数	61.1

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	1
事業名の記載 (2)	0
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	7
総点(分母)	10
100点満点中の点	70.0

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

—呼吸器系疾患 (呼吸不全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ひとつ、「呼吸不全に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。研究対象となったのは、慢性閉塞性肺疾患(COPD)、肺リンパ脈管筋腫症(LAM)、ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)、原発性肺高血圧症(PPH)、慢性肺血栓塞栓症、肺高血圧型(CTEPH)、肥満低換気症(OHS)および肺泡低換気症候群(PHS)であった。このうち肥満低換気症(OHS)は有病者数が多く、common diseaseである上、治療法も健康保険が対応しているため、対象として再考を要すると考えられた。他の疾患は難治性の度合いが高く、対象疾患として適切であると思われた。研究としても臨床に役立つものが行われ、治療や患者の福祉にも役立つと考えられた。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common diseaseと同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究

目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「呼吸不全に関する調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性について提言することを目的

とした。

B. 研究方法

- (1) 本研究班から提出された 2008 年度の報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として本研究班の評価をおこなった。
- (2) 難治性疾患克服研究事業において作成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の 3 つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。
- (3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

● 疾患の定義および重要性

慢性閉塞性肺疾患 (COPD)、肺リンパ管筋腫症 (LAM)、ランゲルハンス細胞組織球症 (LCH)、原発性肺高血圧症 (PPH)、慢性肺血栓塞栓症、肺高血圧型 (CTEPH)、肥満低換気症 (OHS) および肺胞低換気症候群 (PHS) を対象としている。対象疾患自体は明確である。またこれら

疾患は OHS を除けば希少性、重症度の面から難治性疾患として対応する必要度が高いと考えられる。

● 研究の目標、計画、および発症率、有病率の把握 (疫学研究)

これらに関する目標を掲げ、具体的ロードマップを示している。LAM 等を始めとした 7 疾患につき、従来は調査方法が紙ベースであったものを、UMIN を利用した「臨床調査個人票」の登録・データ管理を昨年度より計画し今年度中には開始されるところにある。発症率／有病率の把握を行う上での困難については、PPH、CTEPH、LAM などは特定疾患治療研究の対象疾患であるので「個人調査票」に基づき診断基準に関して統一されている。しかし地方自治体に委託する部分が多いため「認定の難治度」「データの公表」に関しては統一性がなく地方ごとの格差大きいなど、自ら疫学調査には問題があるとしている。一方、その他の疾患では診断に高度の専門性が要求されるため、一般施設における「見落とし」が懸念されるという。これによる不正確さも指摘している。

● 倫理性の遵守

疫学研究として収集するデータに関しては、個人を特定する情報は含まないものとし、京大／医の倫理委員会にて approve されている。

● 診断基準・重症度分類への取り組み、治療ガイドラインの策定・改訂

診断基準、治療ガイドライン、重症度分

類に関しては、7疾患それぞれについて行った、としている。このうち診断基準に関しては確認される。一方、治療ガイドライン、重症度分類については今後の課題となっていると考えられる。

- 難病情報センターなどへの公表

「特定疾患」に認定されているものに関しては特に公表されている。他疾患も学会を通じてなされている。

- 他の研究助成との重複

「総括研究」と称している班全体で行う研究は当班が主導的でオリジナリティが高い。しかし「分担研究」と称される個別の研究に関しては、いわゆる「他のプロジェクトとの重複」の可能性がある。

- 研究計画の妥当性

臨床に役立つ研究が行われ、治療や患者の福祉にも役立つ研究がなされている。

- 研究代表者の指導性

指導性が発揮され、良好な進捗である。

- 研究の成果に関して

高い成果を揚げている。

- 倫理性

各施設での倫理委員会に諮るよう配慮されており、特に問題はない。

- 研究成果の発表

acknowledgement のなされる率は 24%にとどまる、と自ら調査していることは評価される。是非とも他プロジェクトとの重複を回避した上で、多くの citation を進める必要がある。

D. 考察

同じ呼吸器疾患に関する研究班である「びまん性肺疾患に関する調査研究」班との相違については、双方の研究班の方向性の相違を明示する必要がある。単に対象疾患が異なるのであれば独立する意義は少ない。

OHS は閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSAS) の最重症型と位置づけるが、治療法 CPAP は健保が適応され、すでに14万人が使用する。この使用台数などの実態調査を目的としているが、希少性の面から難治性の研究範疇としては不適合であると考えられる。

E. 結論

難治性の範疇にある対象疾患に関しては概ね良好な研究活動と考えられた。

研究班名	呼吸不全に関する調査研究
研究代表者名	三嶋 理晃
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	1
目標・計画 (2)	2
発症率・有病率の把握 (2)	2
診断基準・重症度分類の策定 (4)	4
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	3
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	2
他の研究との重複 (2)	1
得点(分子)	17
総点(分母)	20
100点満点中の点数	85.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	2
研究代表者の指導性 (2)	2
研究成果 (8)	6
行政への貢献度 (2)	2
倫理性 (2)	2
得点(分子)	16
総点(分母)	18
100点満点中の点数	88.9

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	1
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	2
事業名の記載 (2)	0
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	7
総点(分母)	10
100点満点中の点	70.0

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
— 消化器系疾患 (難治性炎症性腸管障害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ひとつ、「難治性炎症性腸管障害に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。その結果、潰瘍性大腸炎とクローン病を対象疾患とした4つの研究プロジェクトによって構成された研究事業全体の研究成果が着実に蓄積されていることを確認した。対象とする疾患の希少性は高いとは言えないが、重症度分類の見直しとそれに連動した治療ガイドラインの作成が開始されており、治療/診療の面での画一化より医療経済面での効率化が期待できると考えられた。また、個々の研究課題では、日本人特有の疾患関連遺伝子の解析や免疫機構、組織再生修復、腸内細菌、炎症性発がんなどの視点からの病態解明に関する projects の進展などが評価される。対象とする疾患、特に重症例、の治療方針が確立されたとは言いがたい。当該期間においては、これらの問題を解決すべく診療・治療に関する基礎研究・調査研究・そして臨床試験がなされ着実に成果が得られており、今後の研究継続の意義があると考えられた。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比

較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common disease と同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなう