

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

—スモン（スモン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、「スモンに関する調査研究班」の研究成果について、様々な角度から評価を行った。その結果、本疾患は薬剤性の重大な健康被害を生じたものとして社会的にも重要である。病因・病態の解明および新規治療法開発のための研究成果、原著論文の発表は乏しいものの、罹患患者の実態把握のための活動が継続性を持って行われている。本年度は特に過去 3 年間に受診歴の無い患者に対してもアンケート調査が行われ、また過去の検診記録のデータベース化を行った点は評価できる。

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「スモンに関する調査研究」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 2009 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 及び D. 考察

I. 研究計画と取り組み

1. 疾患の定義と重要性

スモンの定義は明確である。重大な薬剤性障害を生じた疾患として医療行政上も重要である。

2. 研究目標と計画

目標・計画は明確に記載されているが、各分担研究者の研究の全体における位置づけが明確ではない。

3. 発症率・有病率の把握

スモン認定患者の把握と追跡調査が行われている。

4. 診断基準や重症度分類の策定

診断基準や重症度分類の策定・改訂の

ための活動は現在行われていない。

5. 治療ガイドラインの策定・改訂

治療ガイドラインの策定。改訂のための活動は現在行われていない。

6. 難病センターなどへの公表

公表が行われ、情報更新も2010年2月1日に行われている。

7. 関連学会との整合性への努力

日本神経学会会員が中心となって研究班を構成しているが、連携の努力は明確ではない。

8. 他の研究助成との重複

重複無し。

II. 研究内容・成果

1. 研究の妥当性

目的に照らして研究内容は妥当である。

2. 研究計画の進捗状況

従来の検診に加えて、今年度は過去3年間に検診受診歴のない患者に対するアンケート調査が組織的に行われており、患者実態の把握に向けての調査は着実に進められている。また過去の検診記録のデータベース化が行われ、2年目の進捗状況としては良好である。

3. 研究代表者の指導性

検診事業以外の報告内容は各分担者の個別研究であり、それが本事業のなかでどのように位置づけられるかが明確ではない。本研究班は長年続けられているが、各期において検診以外の重点項目を決めてそれについて集中的な検討を行う

のも一つの方向性ではないかと考える。

4. 研究成果

①治療への有用性:疼痛緩和に関して薬物療法・音楽療法の効果が報告されているが、いずれも少数例での検討にとどまっている。

②患者の福祉への有用性:療養上の問題の調査とその解決のための提言、またスモンの社会的啓発や風化防止のための講演会・冊子発行の活動が行われている。

③病因・病態の解明への有用性:キノホルムの神経細胞毒性、キノホルムによる遺伝子発現パターンの変化について報告されているが、病因・病態の解明のための組織的取り組みは乏しい。

5. 行政への貢献度

本研究班の活動は行政的要求に合致している。

6. 研究の倫理性

倫理面への配慮に関する記載は研究代表者による総括研究報告中に無く、各分担研究報告の中にも記載が殆ど無い。また報告書中に患者の顔が判別できる写真が掲載されているが、患者の同意についての記載がない。

Ⅲ. 研究発表等

1. 研究発表の公表:

研究論文発表は非常に少数である。

2. 発表の質

英文論文も発表されているが Impact

factor の高い雑誌への発表はない。

3. 本事業の目的への適合性

研究成果の刊行一覧に記載されている雑誌掲載の 17 論文中、その論題からは本研究班の研究趣旨との関連が疑問に思われるものが 20%程度ある。また投稿中の未採択のものも 2 論文ある。これらは報告書の作成において改善すべき点である。

4. Acknowledgement

Acknowledgement の記載は 17 論文中 7 論文 (41%) で、更なる向上が必要である。

5. 利益相反: 明らかな利益相反なし。

E. 結論

本疾患は薬剤性の重大な健康被害を生じたものとして社会的にも重要である。病因・病態の解明および新規治療法開発のための研究成果、原著論文の発表は成果は乏しいものの、罹患患者の実態把握のための活動が継続性を持って行われている。本年度は特に過去 3 年間に受診歴の無い患者に対してもアンケート調査が行われ、また過去の検診記録のデータベース化を行った点は評価できる。

研究班名	スモンに関する調査研究
研究代表者名	小長谷 正明
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)	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)	1
他の研究との重複 (2)	2
得点(分子)	10
総点(分母)	20
100点満点中の点数	50.0

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)	1
研究成果 (8)	5
行政への貢献度 (2)	2
倫理性 (2)	0
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)	0.5
論文・発表の質 (2)	0.5
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)	6
総点(分母)	10
100点満点中の点	60.0

