

導性が保たれている。

④研究の成果に関して

治療に役立つ具体的な研究成果として、骨髄単核球移植に関する効果の可能性、骨切り術における β -TCP 挿入などの新たな工夫が行われ、研究成果を出しつつある。福祉に直接的に結びつく具体的な研究成果はないが、ステロイド性骨壊死の予防に関する積極的な研究は、ステロイド治療を受ける患者の不安解消、QOL向上に結びつくものである。病因・病態解明においては、基礎研究を中心に研究が進んでいる。

⑤行政への貢献度

行政への貢献に関して、疫学データは重要な意味を持ち、またステロイド性骨壊死の予防は医療経済学的に意味を持つ可能性がある。

⑥研究の倫理性

倫理性は全体を通して遵守されていると考えるが、報告書の内容から研究における倫理委員会の承認、患者の同意が確認できないものがあった。

III 研究発表

① 受理された成果発表

論文・発表数は十分である。

②発表の質

論文・発表の質は十分である。

② 研究事業への適合性

事業への適合性に関しては、「研究成果の刊行に関する一覧」には、特発性大

腿骨頭壊死症とは直接関係のない論文が含まれている。

③ 究事業名の記載

本研究事業に基づくものであることの記載は、論文の約30%から50%に行われている。

⑤利益相反

明らかな利益相反はない。

D. 考察

特発性大腿骨頭壊死症は、股関節の疼痛と可動域制限を通じ日常生活動作を著しく低下させるが、従来からその治療法は手術的治療にほぼ限られており、確立された予防法もない。しかも、病因のひとつとしてステロイド投与という医療行為が含まれるため、病態の解明、予防法の確立、治療ガイドラインの策定は重要な課題である。

平成20年度までの研究班に引き続き、平成21年度は新たな3年間の研究が開始された。従来と同様に明確な役割分担のもとに優れた研究が行われており、質の高い論文を発表している。疫学研究では定点モニタリングを取り入れ、多数の患者の解析を行っている。ステロイド性骨壊死の予防について、これまでの研究結果を踏まえ、多施設共同研究に向けたプロトコル作成作業を開始した。病態解析では、多くの基礎研究が行われた。臨床では、病期分類の検討、MRIの検討、骨切り術および人工関節置換術の検討が行わ

れ、特に人工関節置換術では多施設の登録監視システムを構築し、検討を継続している。

E. 結論

平成20年度までの「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、平成21年度の「特発性大腿骨頭壊死症の診断・治療・予防法の開

発を目的とした全国学際的研究」班の研究と診断治療指針策定の現況を中心に記述的評価を行った。明確な役割分担のもとに優れた研究が行われており、特に疫学研究、予防法の開発に向けた基礎研究では高度な研究が行われ、質の高い論文発表が見られた。

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 20 年度～平成 22 年度 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

—腎・泌尿器系疾患（進行性腎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、「進行性腎障害に関する調査研究班」の3年間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、全体としては、本事業の目的として妥当であり、効率的に進捗し研究成果があがったと評価される。病態・病因の解明をめざした基礎研究の充実、患者福祉に関する研究などの面について、今後の展開が望まれる。

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「進行性腎障害に関する調査研究」班の2007—2009年3年間の研究成果報告について、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2007—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

項目1 研究計画・取り組み

1. 疾患の定義

IgA 腎症、急速進行性腎炎、難治性ネフローゼ、多発性嚢胞腎を対象としている。定義に問題なく、重要性もある。

2. 目標・ロードマップ

問題なく明確である。

3. 疫学研究

発症率・有病率：有病率は指定施設への調査票などで把握している、発症率は不明である。

4. 診断基準・重症度分類

急速進行性糸球体腎炎の診断指針が策定された。小児 IgA 腎症、急速進行性糸球体腎炎について重症度分類が策定された。

5. 治療ガイドライン

小児 IgA 腎症治療ガイドラインが策定された。我が国独自のデータにも基づいている。

6. 難病情報センターへの公表

様々な診療指針が策定されているが難病情報センターへのリンクがなく、公表が不十分である。

7. 関連学会との整合

腎臓病学会と協力している。

8. 他の研究助成との重複はない。

項目2 研究内容・成果

1. 研究計画の妥当性

基礎研究だけではなく臨床研究も計画されており妥当である。

2. 研究計画の進捗状況

各分科会のデータベース構築、多施設研究が順調に進捗している。

3. 研究代表者の指導性

4 疾患分科会とこれらを横断的につなぐ疫学、腎病理の2分科会という構成、腎臓病総合レジストリーの構築、腎生検レジストリーの構築など研究代表者の指導性が発揮されている。

4. 研究成果

治療に役立つか 急速進行性糸球体腎炎、多発性嚢胞腎では多施設介入試験が進捗しており結果が期待される。患者の福祉に役立つか 治療成績の向上により患者の福祉に貢献できる可能性がある。患者 QOL に関する研究に乏しい。病因・病態の解明 新体制となった影響もあると考えられるが病因・病態の解明をめざした基礎

研究が不足している。

5.行政への貢献度

疾患の予防・治療が確立していけば、貢献が期待できる。

6.研究の倫理性

遵守されている。

項目3 研究発表等

1.研究発表の公表

よくなされている。

2.発表の質

英文誌への掲載は多いが、今後質の面でますますの向上が期待される。

3.研究事業目的と合致しているか？

合致している。

4.Acknowledge

研究事業名の記載のない業績が多い。

5.利益相反

なし。

D. 考察

分科会制による組織だった新研究体制、レジストリーの構築、多施設介入試験による治療エビデンス構築の試みなど、研究指導者の指導性が発揮され臨床研究面での充実は多いに評価できる。またこのような新研究体制により臨床研究が進展したことは当初の目標・意図を達成できたともいえる。しかし病因・病態の解明をめざした基礎研究に乏しくなってしまった点は否定できない。両者の両立が以下に困難であるかは理解できるが、今後の課題ではある。

E. 結論

全体としては、本事業の目的として妥当であり、効率的に進捗し研究成果があがったと評価される。病態・病因の解明をめざした基礎研究の充実、患者福祉に関する研究などの面について、今後の展開が望まれる。

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 20 年度～平成 22 年度 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（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。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が、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、原著論文の発表は現時点では乏しい。しかし、全国横断的な臨床研究の端緒が垣間見られており、有意であった研究、優れた研究は今後さらに全国展開するべきである。

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 2007—2009 年 3 年間の研究について、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 2007—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

2007年度～2009年度の間に情報更新が行われている。

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

従来の各県のスモン検診に加えて、2008年度よりは全国横断的な研究の端緒が見られている点は評価出来る。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、また過去の検診記録のデータベース化も行われた。またスモン患者における認知機能、疼痛性障害、味覚障害、嗅覚障害、自律神経機能、異常感覚への音楽療法、歩行能力、QOLとその向上への支援など、患者の抱える諸問題へのアプローチも行われはじめている。

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は明確ではないが、これまでにない研究が開始されている点は研究者代表者の指導性を評価出来る。

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:患者のQOLを維持するための研究、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:としてキノホルムの生物学的な影響についての基礎医学的研究が報告されている。スモン患者における認知機能、疼痛性障害、味覚障害、嗅覚障害、自律神経機能の検討が行われているが、臨床研究の多くは少数例での検討にとどまっている。

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も掲載されているが、患者の同意につい

での記載がない。

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少なからずあり、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 の記載について、記載率の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。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が、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、原著論文の発表は現時点では乏しい。しかし、全国横断的な臨床研究の端緒が垣間見られており、有意であった研究、優れた研究は今後さらに全国展開するべきである。

