

厚生労働科学研究費補助金
難治性疾患等克服研究事業（難治性疾患克服研究事業）
「運動失調症の病態解明と治療法開発に関する研究」班
平成 25 年度ワークショップ報告書

【演題名】前向き研究を目的とした MSA コホート構築の試み
-特定疾患制度を利用したシステム構築の課題-

【演者】佐久嶋 研、佐々木 秀直

【所属】北海道大学大学院医学研究科神経病態学講座神経内科学

【要約】

はじめに

神経難病の疫学及び治験実施体制を構築するにあたり地域の特性を考慮することは重要である。北海道は道というひとつの行政単位の下に人口が約 550 万人で構成されており、他の都道府県とは海を隔てているため患者移動が少ないという特性がある。加えて、北海道は明治時代に全国から移住した人々の子孫により基本的な人口が構成されている側面があり、遺伝的な観点から見て日本の縮図ともいえる特徴を有している。今回、北海道における特定疾患制度を利用した多系統萎縮症（MSA）の疫学実施体制・患者レジストリ構築の試みを紹介する。

HoRC-MSA という試み

HoRC-MSA (Hokkaido Rare disease Consortium for MSA) は、北海道において特定疾患制度で登録されたデータを活用し多系統萎縮症の患者レジストリを作成することで自然歴研究と治験実施体制の構築を行うモデル的な事業のことである。活動体制は北海道大学神経内科が事務局となり、データセンターを北海道大学病院高度先進医療支援センター、疫学的側

面のサポートを札幌医科大学公衆衛生が担い、北海道庁の協力を得て実施する形としている。事業は大きく 2 つのステップで構成されている。一つめのステップ (1st step) では既存の特定疾患資料を基に横断調査を実施して北海道の MSA の全体像を把握することを目的としている。二つめのステップ (2nd step) では患者レジストリを作成し前向きコホート研究を実施することで、信頼性の高いデータを収集し自然歴研究を行うとともに、将来の治験に向けた実施体制を構築することを目的としている。1st step は平成 18 年度から平成 23 年度までの特定疾患資料を基に平成 24 年末～平成 25 年 2 月にかけて特定疾患個人調査票を作成した担当医に対して郵送調査を行う形で実施された。この調査では多系統萎縮症 1092 例が対象となり、885 例 (81%) の回収が得られた。データの解析は現在実施しているところであるが、このデータにより北海道の多系統萎縮症の概要を把握し、2nd step 実施体制を構築する予定である。

北海道・特定疾患制度・レジストリ

北海道という地域は後述する点から特定疾

患制度を利用した研究事業を行うのに最適の地域である。一つめは他の都道府県と海を隔てていることから患者移動が少ない点である。既存のデータを利用する場合と前向きコホート研究を実施する場合の両者において、同じ都道府県内で縦断的なデータが蓄積されていくことは患者追跡およびデータ管理にかかる負担や脱落のリスクを低減させる大きな要素である。二つは遺伝学的な観点から多様性に富んだ人口集団である点である。北海道の人口は明治時代に全国から移住してきた人々をルーツとしている。そのため、ある程度の年月は経過しているものの日本の縮図ともいえる遺伝学的に多様性に富んだ集団であると思なすことができ、そこで得られた知見を日本全国に一般化しやすい可能性がある。三つめは道という一つの行政単位であることから連携をとりやすいという点である。特定疾患の情報を利用するにあたり、行政と連携し適切にデータ管理を行うためには綿密な連携が必要不可欠である。その際に連携する行政組織がひとつであることは意思疎通・情報共有を容易にし、円滑に事業を進めることができるようになる。患者レジストリを構築・維持していく際においても、患者移動が少なくひとつの行政単位でまとまっていることは、研究事務局・患者が通院している病院・患者とその家族の三者が少ない負担で登録・情報共有できることにつながる。

横断的な連携と前方視的な役割

HoRC-MSA プロジェクトはプロジェクトそのものにより収集されるデータに加えて、横断

的な連携と前方視的な役割がある。横断的な連携として、個票データを用いた疫学的研究の方法論を確立することで他の地域や他の疾患で同様の研究を行う場合のモデルとなることと、より規模の大きな全国的な疫学研究の一部となることが挙げられる。前方視的な役割として、将来的な治験を目指した患者レジストリとなるとともに、疾患の自然歴データを提供できることは新規治療薬の開発を効率的に行うための情報が提供できる。

まとめ

HoRC-MSA プロジェクトはまだ始まったばかりであり、前向きコホート研究による自然歴データ収集や患者レジストリ構築はこれからである。多系統萎縮症の患者・家族に新たな治療を届けることを最終目標として、治験・臨床研究のプラットフォームとなるべくプロジェクトを進めていく予定である。