

患者および患者支援団体等による研究支援体制の構築に関する研究
研究分担者 執印太郎 高知大学教育研究部医療学系臨床医学部門・泌尿器科学

研究要旨

近年欧米で新規医療技術の評価機軸として用いられつつある患者報告アウトカム（Patient-Reported Outcome; PRO）が、本邦でも使用できるかどうかを、希少疾患のフォン・ヒッペル・リンドウ（VHL）病患者の協力を得て調査した。昨年度に患者レジストりに登録された VHL 病患者に質問票を郵送した。質問票は自己記入式であるが、回収率や回答率も高率であり、本邦においても PRO が新規医療技術開発の評価基準として十分使用可能であると考えられた。この研究により死亡率や治癒率が評価基準として適当でない難病患者の新規医療技術開発研究を促進することを目指す。

共同研究者

山崎 一郎（高知大学・泌尿器科学）

新開真由美（ほっと Chain（患者会））

A. 研究目的

難治性疾患の様に治癒することが困難な疾患においては、新規治療技術の評価を行うためのアウトカムに治癒率や死亡率を使用するのは適当でなく、患者の主観による日常生活動作の障害度や社会参加の制限度を評価する必要がある。このようなアウトカムは、PROと呼ばれ、その定義は、「臨床医などによる患者の回答の修正または解釈を介さない、患者の健康状態に関する患者から直接得られた報告に基づく測定」とされている。欧米では徐々に臨床試験の評価にPROが用いられてきているが、我が国ではまだなじみがないため、PROが可能かどうかを評価する目的で研究を行った。

B. 研究方法

VHL 病患者会の協力のもと、昨年度に患者レジストりに登録された患者に、紙媒体の自己記入式質問票を送付し、この自己記入式質問票の回収率と回答率を検討した。

（倫理面への配慮）

患者団体、患者支援団体が中心となり、調査視点が調査対象と重なるために、倫理的問題がおき

にくい、個人情報の扱いに関する十分な説明を行ったうえで行う。

C. 研究結果

自己記入式質問票の回収率は 51%であった。回収できた 27 人の質問票の回答率は、平均 88%（65～100%）であった。

D. 考察

一般的なアンケート調査における質問票の回収率に比べて、今回の質問票の回収率や回答率は高率であった。有効な薬剤のない希少疾患患者において、直接利益をもたらす可能性のある臨床試験であれば、積極的な患者参加が期待できると考えられた。したがって、信頼性や妥当性を担保された PRO は、本邦においても新規医療技術の評価に十分使用可能であると考えられた。

E. 結論

希少疾患における PRO は、新規医療技術開発の評価基準として使用できる可能が示された。

F. 研究発表

1. 論文発表

該当なし

2. 学会発表

該当なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

（予定を含む）

1. 特許取得

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）
分担研究報告書

該当なし

2. 実用新案登録

該当なし

3. その他

該当なし