

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 立岩 真也 立命館大学大学院 先端総合学術研究科 教授

研究要旨

「難病 nambyo」<http://www.arsvi.com/n02.htm>、およびそこからリンクされる「難病 2012」「難病 2013」「難病 2014」（<http://www.arsvi.com/n022012htm>、等）個々の疾病別の頁を作成・更新・増補し、広く情報を提供するとともに、各ページから「厚生労働科学研究 難治性疾患等克服研究事業 患者情報登録サイト」にリンクさせ、告知・広告した。

共同研究者

佐藤達哉（立命館大学文学部）

A. 研究目的

「難病」関連の情報を広く収集し、HPを媒体として発信する。もって、「患者情報登録サイト」の存在を告知し、加入を推進することを目指す。

B. 研究方法

各種メーリングリストからの情報、新聞社・放送局の報道、研究報告・闘病記などを収集し、整理した上で、公開されるべきまた公開可能な情報を、HPに、メンバー限定の「患者情報登録サイト」と別に、時系列および各疾患別に掲載していく。

（倫理面への配慮）

掲載情報は公開されている情報に限定した。

C. 研究結果

<http://www.arsvi.com/n02.htm> 上からの疾患別、年別ファイルは157。そこからさらに、書籍、論文、報告などの案内あるいは全文を掲載する多数のページを作成し、閲覧することもできるようにした。医学・医療的情報は難病情報センターのページ他にリンクさせ、それで情報を得てもらうとともに、本人や家族による著作や患者会等による催しの情報、社会科学領域を含む研究成果の掲載、関連制度・制度改革関連情報の提供を行なった。「難病」という日本固有の範疇に関わる概説も加えた。また関連するメーリングリスト、ほかにフェイスブック、ツイッター等で告知・広

告した。

このページ群を収録し、その表紙からこのたびの研究プロジェクトのトップページ（「難病」と表示表）にリンクされているウェブサイト（<http://www.arsvi.com/>、「生存学」で検索）の年間累計ヒット数は約1000万となり、告知および情報提供の役割を果たすことができた。さらに、こうした情報を収集・提供する立場から「患者情報登録サイト」のあり方に関わる議論に加わり、提言を行なった。

D. 考察

公開すべきものは公開し、限定すべきものは限定し、相互にリンクさせる。両方があることを人々が知り、多くの人々が得るべき情報を得るとともに、それをきっかけにして、希望する人は自らによる情報提供・相互利用を目指す「登録サイト」に加入し活用することができる。2種類のサイトを併行・併用していくこの仕組みが有効であることが示されたものとする。

E. 結論

「患者情報登録サイト」へのより多くの人の自発的・積極的な参加、情報提供を得るためには、まずそれが知られることが必要であり、また、自らが情報を提供するとともに自らが得られる情報があることが望ましい。そしてその情報の多くは公開されるべきものである。そのためには今回採用した2つの並行・連携が最適である。今年度私たちが試行した公開の活動については、公的な資金を得ることを明示しつつ（今回は各ページ下に記載）、一定の独立性をと恒常

性を有する研究機関が望ましい。さらに対象疾患を拡大するなど、活動の拡大・拡張を今後ともはかっていく。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1 論文発表

- ・『私的所有論 第2版』 2013 生活書院
- ・『差異と平等——障害とケア／有償と無償』（立岩真也・堀田義太郎） 2012 青土社
- ・『生の技法——家と施設を出て暮らす障害者の社会学 第3版』（立岩真也・安積純子・尾中文哉・岡原正幸） 2012 生活書院

2 学会発表

- ・「生存学と死生学」 2012/10/27
日本生命倫理学会第24回年次大会大会
- ・「飽和と不足の共存について」（大会長講演）
2012/10/27
日本生命倫理学会第24回年次大会

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし

患者の報告するアウトカム指標に関する研究

研究分担者 中島孝 国立病院機構新潟病院 副院長

研究要旨：医療の質・結果は患者により本来評価されるべきであるが、現代医療では代理指標としての客観的エビデンスのみ尊重する逆転がおきた。根治療法のない、難病領域の医療は本来、医療従事者によって客観評価されるべきではなく、臨床評価としては患者の主観評価を患者の報告するアウトカム（PRO: Patient reported outcome）に基づく研究が必要となる。初年度は希少性神経筋難病患者の歩行に関する、患者の報告するアウトカム評価（PRO 評価）として5つの領域すなわち、歩行時の疲労感、歩行時の足の軽さ、歩行時の安定性、歩行の安心感、歩行の楽しさに関する PRO としての評価法を開発した。PRO 評価の変化に関するレスポンスシフト現象を理解することは容易ではなく、臨床試験、治験担当者を含め研修する方法に関して研究した。二年目として、PRO とレスポンスシフトの理解を深めるための教育方法を開発した。

A 研究目的

医療の質・結果は患者により本来評価されるべきであるが、現代医療では代理指標としての客観的エビデンスのみを尊重する逆転がおきた。特に、根治療法のない、難病領域では医療の質は本来、医療従事者によって客観評価されるべきではない。

このために、臨床評価として患者の主観評価は患者の報告するアウトカム（PRO: Patient reported outcome）が必要となる。これは医療従事者による評価、客観評価ではない。新規治療法を検証する際の臨床試験・治験にも治療効果を客観的指標だけでなく、患者自身が感じる良いか悪いかの PRO により評価すべきである。以前から、重視されていた QOL（生活の質）とは医療・福祉領域での患者が感じる生活に関する PRO のことである。難病医療では PRO/QOL を向上する医療が質の高い医療である。

PRO の様な、主観評価法では人は日々、同様のもの、同様の事象に対しても評価を変更していることが明らかになってきた。これをレスポンスシフトというが、PRO は構成概念であり、患者自身が概念化であり、日々評価は変化することをレスポンスシフトと呼んでいる。QOL/PRO をつかう医療の質の科学的評価はレスポンスシフト現象を

考慮する必要がある。SEIQoL は代表的な PRO 評価法でありレスポンスシフトの科学的な研究が可能である。良いレスポンスシフトをおこしうる難病医療が良いと言える。

「健康状態とは、身体的、精神的および社会的に完全に良好であること（well-being）であり、単に病気や病弱ではないことではない」（1948 年世界保健機関憲章前文）とされているが、完全に良好であることを操作主義的には定義できず、健康概念の変更が試みられている。Machteld Huber（BMJ2011）の新しい健康概念「the ability to adapt and self manage in the face of social, physical, and emotional challenges. 社会的、身体的、感情的問題に直面したときに適応し自ら管理する能力」が提唱されており、それを高める医療が質の高い医療であり、適応する際の変化が重視されている。

初年度は希少性神経筋難病患者の歩行に関する、患者の報告するアウトカム評価（PRO 評価）として5つの領域すなわち、歩行時の疲労感、歩行時の足の軽さ、歩行時の安定性、歩行の安心感、歩行の楽しさに関する PRO として評価法を開発した。

二年目は、PRO/QOL とレスポンスシフト評価

法に関する教育研修は大変困難であり新たな教育研修方法について研究した。WHO の健康概念に対応した nomothetic な PRO/QOL 評価法としての EQ-5D と idiographic な視点を持つ SEIQoL を対比させる中で、ALS 患者のプロファイルからロールプレイをおこない、参加者自らが、PRO/QOL 評価をおこない、その都度、データの統計学的特徴をフィードバックする事によって、SEIQoL と EQ-5D の本質的な差と統計学的な特徴を参加者が学習できる教育プログラムを作成した。

B 研究方法

1. 希少性神経筋難病用の歩行評価のための PRO の開発研究

医療機器、医薬品の臨床評価をする際に、WHO の健康概念から導かれる客観的医学的な指標のみならず、患者の主観的な感覚または認識から評価する方法として、患者の報告するアウトカム

(Patient-reported outcome: PRO) の評価指標を検討した。主観的な歩行評価に対応する項目を 5 項目作成したが、相互の重み付けについては検討せず、合計点については評価しなかった。治療前後の臨床効果は SEIQoL を参考にして、Pre-test、Post-test の差のみならず Retrospective pre-test すなわち Then-test も評価できるようにデザインをおこなった

2. PRO とレスポンスシフトの教育研修システムの構築

H24 年度の厚生労働省難治性疾患等克服研究事業、「希少性難治性疾患—神経・筋難病疾患の進行抑制治療効果を得るための新たな医療機器、生体電位等で随意コントロールされた下肢装着型補助ロボット (HAL-HN01) に関する医師主導治験の実施研究班」で、視覚的歩行評価中央判定委員会の評価委員が独立して評価入力し、iPod 又は iPhone で動作する、自動的に集計するアプリケーションを開発した。この研究班と共催で、PRO とレスポンスシフトの研修会として、「患者の主観的

評価に基づく医療 QOL 評価の新しい実践」をおこなった。この際に使用するアプリケーションを上記のシステム上で動く様に設定した。一般教育目標は治癒できない疾患（難病、慢性疾患、緩和ケア対象疾患）患者であっても、レスポンスシフトを起こし、ダイナミックに適応しながら、新たな健康概念 (BMJ2011) に基づく保健医療介入の効果を評価するための PRO 評価法を理解する目的で教育コンテンツの構築をおこなった。

(倫理的配慮：本研究では、ヘルシンキ宣言、薬事法、臨床研究倫理指針を遵守するだけでなく、患者団体からの情報を得ながら、十分な倫理的配慮をおこない研究した。セミナーでは毎回参加者の入力時に同意を得た。)

C 研究結果

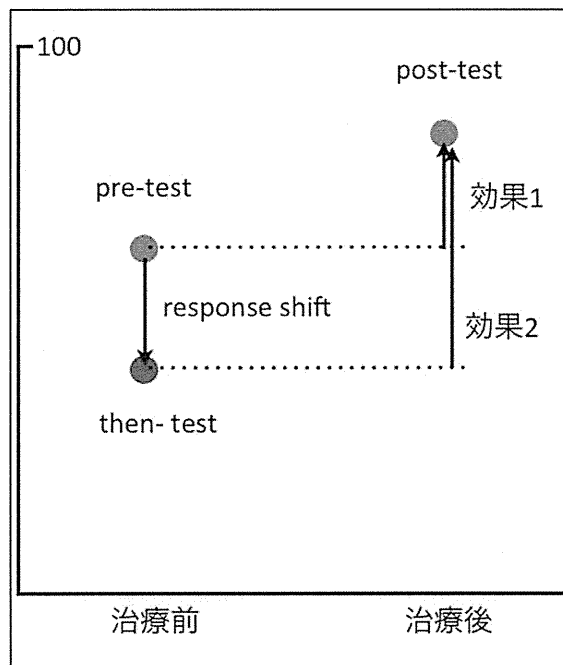
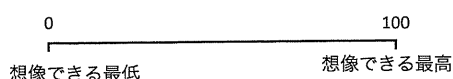
1. PRO 歩行評価法

患者自身による主観的歩行評価法を以下の様に開発した。治療前評価 (pre-test)、治療後に行う後評価 (post-test)、治療後に治療前の状況を思い出し、現在の視点から振り返って行う再評価 (then-test: retrospective pre-test) の 3 回実施する。後評価 (post-test) は、必ず再評価 (then-test) の前に実施することとし、後評価 (post-test)、再評価 (then-test) の際、被験者に前評価 (pre-test) の結果を教えるはならない。評価結果は、100mm の線分による視覚アナログ尺度が記載された専用の記載用紙に被験者が記載する。被験者による記載が困難な場合は、被験者の指示に基づき介護者等が記載することも可能とする。最低値を被験者が想像する最も低い状態、最高値を被験者が想像する最も高い状態と定義して、線分に印をつけてもらい、計測し、1mm を 1 として連続量比尺度として計測する。以下の 5 項目に対して評価してもらう。

- ① 歩行時の疲労感 (想像できる最高に強い疲労感を 100 とし、想像できる最低の疲労感を 0 とする)
- ② 歩行時の足の軽さ (想像できる最高に足が軽

い状態を 100 とし、想像できる反対の状態を 0 とする)

- ③ 歩行の安定性（想像できる最高に安定した歩行を 100 とし、想像できる全く安定していない歩行を 0 とする）
- ④ 歩行時の安心感（想像できる最高に安心な状態を 100 とし、想像できる全く安心でない状態を 0 とする）
- ⑤ 歩行の楽しさ（想像できる最高に歩行が楽しい状態を 100 とし、想像できる全く歩行が楽しくない状態を 0 とする）



臨床効果の判定は以下の数値を計算する。

臨床効果 1 : (Post-test) - (Pre-test)

治療による変化を計測する。内的な評価尺度が変化していると正しい差にならないことがある。

臨床効果 2 : (Post-test) - (Then-test)

治療による変化を計測する。評価尺度が変化していても過去の事象に対する記憶があきらかであれば、評価可能である。

Response shift : (Then-test) - (Pre-test)

レスポンスシフト (Response shift) は治療前という過去の再評価を記憶に基づいて行っており、治療により過去に対する評価が変化する現象を評価する。

2. PRO とレスポンスシフトの教育研修システムの構築

ロールプレイ法で、参加者の半分は患者役となり、残りの半分は面接者として、EQ-5D と SEIQoL-DW のデータは参加者の 60 台の端末から、以下のような画面から入力され、サーバでリアルタイムに集計され、円グラフ、棒グラフ、ヒストグラムなどで、プレゼンテーション可能とした。



SB0s（個別教育目標）は以下である。

- 難病患者の代理評価のためのロールプレイ方法を習得する。
- 難病患者の PRO を聴き取る方法を習得する。
- 難病患者の PRO を EQ-5D で評価する際の特徴を理解する。
- 難病患者の PRO を SEIQoL-DW で評価する際の特徴を理解する。
- VAS と標準化された手法（EQ-5D, SEIQoL）との計量的な特徴を理解する。
- EQ-5D と SEIQoL との統計心理学的な差を理解する。
- 難病における QOL 概念の誤解を解く講義によって、聴衆が代理評価した QOL 評価値が変化するレスポンスシフト現象をリアルタイムに体験理解することで人の主観評価におけるレスポンスシフト現象を理解する。
- 治療困難な病態に罹患した患者の PRO/QOL 向上を行う保健医療とは何かを理解する。

患者主体の QOL 評価法「SEIQoL-DW」を学び、活かす実習セミナーの例をしめす。日時：平成 26 年 2 月 8 日（土）13:45～17:15 場所：九州大学病院 コラボレーション 1 視聴覚ホール、全体進行：岩木、セミナー進行：井手口として、右の表の様に作成し実際に進行をおこない、リアルタイムの情報収集と集計が可能だった。さらに、参加者に対して、今回作成したアプリケーションを用いて、集計結果を直ちに参加者にフィードバックしながら、その上で、セミナーを進めていくことが可能だった。

D 考察

初年度の歩行評価法を PRO として作成したが、PRO/QOL 概念とレスポンスシフト評価法に関する教育研修は大変困難であることが判明した。このため、二年目は患者情報から、参加者自身が、ロールプレイで患者の代理評価者となり、もう一人の参加者が、PRO を EQ-5D と SEIQoL-DW を用いて聴き取る方法により、数値の統計心理学的な特徴を容易に理解できると考えた。講義や患者

時間	内容	講師	スタッフ
	会場設営/機材確認		
12:00～ 13:00	スタッフミーティング (昼食) (全体の流れ確認/機材の説明)	中島・山本・井手口・中山・ 岩木・上三垣・平山・西・ 宮崎【福岡】松田・申【医学研】 花井【国立武蔵】・ 川口植村・中野(2)・橋本(2)	
13:00～ 13:30	受付会場設営		
13:30～ 13:45	受付		岩木・上三垣 松田・申
13:45～ 13:55	開会挨拶	橋本操(橋本班)吉良潤一(福岡県難病医療連絡協議会)	
13:55～ 14:40	演習：全体説明/基本情報・アンケート入力・データ提示(20分) 症例提示(10分) EQ5D 1 回目 (①Index, ②VAS) (15分)	井手口直子, 中山	
14:40～ 15:25	講義:医療における QOL 評価、現代における喪失のケアと緩和ケア、難病ケア、QOL とは何か: ケアを改善するために QOL の誤解を解き、どのように理解するとよいのか?	中島 孝 (国立病院機構新潟病院副院長)	
15:25～ 15:40	患者の立場からみた主観的 QOL 医療職に期待すること	中野玄三氏	
15:40～ 15:45	EQ5D 2 回目 (②VAS のみ)		
	休憩		
16:00～ 17:00	SEIQoLDW 演習: 2 人組 自己紹介, ロールプレイ説明 Cue の抽出 (15分) level の決定 (10分) Weight の測定 (10分) SEIQoL-index スコアの測定 (10分) SEIQoL-index score と EQ5D スコアの比較 (10分)	中島、井手口氏、中山、岩木	花井・松田・申
17:00～	総論討論: 理解度・参加後アンケート入力		

自身のプレゼンテーションの前後に参加者自身のレスポンスシフトが起きていることが、集計結果からえることができるという点で、この教育方法は大変優れたものといえた。

E 結論

新規の治療法や難病治療のアウトカム評価においては、患者の報告するアウトカム評価 (PRO 評価) が重要であり、PRO の理解、レスポンスシフト現象の理解を進めることで適切な臨床研究と臨床実践が可能になる。

F 研究発表

1. 論文発表

1. 中島孝,遠藤寿子,池田哲彦,装着型ロボット応用の現状と展望,治療, Vol.95, No.12, 2013, 2088-2093
2. 中島孝,新たな医療の構築を地域で目指す一病院のイノベーション・挑戦,ドクターズマガジン, No.169 November 11, 2013, P2
3. 中島孝,非ガン患者さんの緩和ケアとQOLを求めて,メディカルタウンの“看取りのルネサンス”～喪失から再生への地域ケア共同体へ～,30年後の医療の姿を考える会編, 2013, 27-75
4. 中島孝,遠藤寿子,池田哲彦,12. ロボットスーツHAL, JOURNAL OF CLINICAL REHABILITATION, Vol.22 No.8 (8), 2013, 792-797
5. 中島孝,「治らない病気」と向き合える「告知」とは,日経ビジネス アソシエ,第12巻第10号通巻264号, August 8, 2013, 118-119
6. 中島孝,ロボットスーツHALの医療応用 神経・筋難病患者や高齢障害患者に新たな医療モデルを提供する, CLINIC magazine, No.529, 2013, July 7 9-12
7. 中島孝, 第7章心理ケア,新ALSケアブック(日本ALS協会編),川島書店,2012,177-193
8. 中島孝, 第5章小脳障害の治療「ロボット工学の臨床応用」,小脳と運動失調小脳はなにをしているのか(編集・西澤正豊),中山書店,2012,249-261
9. 中島孝, 12章・2ロボットスーツHAL開発の進歩,脊髄性筋萎縮症診療マニュアル(SMA診療マニュアル編集委員会),金芳堂,2012,119-125
10. 中島孝,尊厳死論を超える一緩和ケア難病ケアの視座,現代思想,40(7),2012,116-125
11. 中島孝,患者もスタッフもいきいきとするケアを行なうために 治らない病気とともに生きる患者のQOLを考える,看護管

理,2012,22:563-568

12. Shimizu T, Nagaoka U, Nakayama Y, Kawata A, Kugimoto C, Kuroiwa Y, Kawai M, Shimohata T, Nishizawa M, Mihara B, Arahata H, Fujii N, Namba R, Ito H, Imai T, Nobukuni K, Kondo K, Ogino M, Nakajima T, Komori T., Reduction rate of body mass index predicts prognosis for survival in amyotrophic lateral sclerosis: a multicenter study in Japan. Amyotroph Lateral Scler. 13(4), 2012, 363-366

2. 学会発表

1. 第53回日本神経学会学術大会(2012年5月25日東京国際フォーラム)発表、SMAなど神経筋疾患に対するロボットスーツHALの医療機器承認を目的とした治験準備研究
2. 東京女子医科大学医学部、医学生向け、医学教養セミナー、「ロボットスーツHALの医療への応用」(2012年6月27日)
3. Clinical trial seminar for HAL in Germany, Klinikum der Ruhr-Universität Bochum - Berufsgenossenschaftliches Universitätsklinikum Bergmannsheil GmbH, Germany, "Development of robot suit HAL medical application in Japan and the first clinical trial for neuromuscular disease patients" 22 August 2012
4. 患者会対象説明講演会、遠位型ミオパチー患者会、「ロボットスーツHALの医療への応用および治験の話: 遠位型ミオパチー患者会の皆様へ」(京都2012年9月1日)
5. 患者会対象説明講演会、SMA家族の会「ロボットスーツHALの医療への応用および治験の話: 脊髄性筋萎縮症患者・ご家族の皆様へ」(京都2012年9月15日)
6. 患者会対象説明講演会、CMT病患者会「ロボットスーツHALの医療への応用および治験の話: シャルコー・マリー・トゥース病の

- 患者会の皆様へ」（横浜2012年9月16日）
7. 第6回日本緩和医療薬学会（2012年10月7日 神戸国際会議場）、ワークショップ・シンポジウム：患者主導型臨床研究（Patient Reported Outcome: PRO）と臨床試験におけるこれからの緩和的なかわりにおいて、「緩和ケアと難病ケア—その課題治らない病気に対する治療の開発—緩和医療における新たな治療開発モデル（HAL）」
 8. 市民公開講座、希少性・難治性筋疾患に対するロボットスーツの実用化—香川県丸亀市保健福祉センター「希少性・難治性疾患 - 神経筋難病性疾患に対するHALの治験について」（2012年11月25日）
 9. 市民患者向け、説明会 神経筋難病に対する生体電位駆動型ロボットの臨床応用について、2012年12月2日、東京国際フォーラム 当研究班と厚生労働科学研究 難治性疾患等克服研究事業「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わる研究班」（橋本操研究代表者）との共催
 10. 先端医療振興財団 臨床研究情報センター（TRI）セミナー「HALを用いた希少性難治性疾患に対する医師主導治験について（HAL-HN01に対するNCY3001試験）」（神戸 2012年12月17日）
 11. 徳洲会グループ医療経営セミナー講演、「ロボットスーツHALを用いた難病医療戦略と医師主導治験の展開」（千葉2013年1月26日）
 12. サイバニクス国際フォーラム、「希少性神経・筋難病に対するHAL-HN01の医師主導治験について」（東京国際フォーラム 2013年3月23日）
 13. 第15回日本在宅医学会大会 合同シンポジウム、「終末期ガイドラインを在宅現場でどう活かす？～先延ばしの医療から本人の生き方に向き合う医療～」（愛媛 松山ひめぎんホール 2013年3月31日）
 14. 日本医工学治療学会第29回学術大会、「シンポジウム1 医工連携によるイノベーションの実際—薬事承認・保健医療化の実例と課題」（パシフィコ横浜 2013年4月20日）
 15. 福岡 脳・神経HAL研究会、「ロボットスーツHAL医療機器モデルにむけて：神経筋難病に対する治験準備の経験から」（福岡大学医学部本館 2013年6月13日）
 16. 東京女子医科大学医学部人間関係教育 医学教養講義、「ロボットスーツHALの医療への応用」（東京女子医科大学 2013年7月3日）
 17. 第2回筋ジストロフィー臨床試験ネットワークワークショップ、「ロボットスーツHAL-HN01治験と今後—plasticityと発達」（横浜ワールドポーターズ 2013年7月27日）
 18. 第8回庄内緩和医療研究会、「日本における緩和ケアの誤解を解くために—QOL、健康、延命、尊厳、痛み、スピリチュアリティとは何か—」（東京第一ホテル鶴岡 2013年8月10日）
 19. 第6回HTLV-1研究会、「HAMの歩行障害に対するロボットスーツHALの治験準備研究と戦略」（東京大学医科学研究所 2013年8月25日）
 20. 第4回ALSフォーラム、「ALSケアにおける緩和の考え方」（シェラトン都ホテル東京 2013年8月31日）
 21. 患者会対象説明講演会 com-passの会、「ロボットスーツHALの治験参加について」（品川インターシティ 2013年9月14日）
 22. 第7回日本緩和医療薬学会、「非がんの緩和ケア—ALSチーム医療への参加」（幕張メッセ国際会議場 2013年9月15日）
 23. 患者主体のQOL評価法「SEIQoL-DW」を学び、活かす実習セミナー、「主観的評価が医療を変える QOLの新しい実践」（帝京平成大学中野キャンパス 2013年10月27日）

24. 国立精神・神経医療研究センター研修会、「QOL新しい実践SEIQoL-DW」（国立精神・神経医療研究センター 2013年11月17日）
25. 第25回日本生命倫理学会、「新しい医療機器としてのロボットスーツHALー治験プロトコールにおける新たな治験概念とエンハンスメント」（東京大学本郷キャンパス 2013年12月1日）
26. HAM患者会シンポジウム、「ロボットスーツHALについて」（熱海アカオリゾート ロイヤルウイング 2013年12月8日）
27. 第2回日本脳神経HAL研究会、「神経難病とロボットスーツ」（福大メディカルホール 2013年12月21日）

G 知的所有権の取得状況

今回の研究年ではあらたな取得はなかった。

PROのひとつとしてのSEIQoLの普及・啓発に関する研究 研究分担者 中山 優季 公財)東京都医学総合研究所 難病ケア看護研究室

研究要旨

本研究では、PRO (Patient Reported Outcome) の一つである SEI-QoL について、研究動向の調査ならびに、啓発サイトの構築や実践的な啓発セミナーを開催し、当事者・医療職等関係者の主観的評価に関する共通認識を図ることを目的とした。

啓発セミナーでは、SEI-QoL に関する関心の高さが示され、専用のレスポンスアナライザーを用いた双方向型の効果的な研修システムを確立できた。受講前後でのよい医療や QOL に関する認識の変化がみられ、実践上にはもっと研修が必要との意見も多く、セミナーやサイト等実践的な啓発活動の継続の重要性が示唆された。

共同研究者

井手口直子（帝京平成大学薬学部）

川口有美子 (NPO 法人 ALS/MND サポートセンターさくら会研究事業部)

織田友理子 (NPO 法人遠位型ミオパチー患者会)

松田千春（公財）東京都医学総合研究所）

平成 26 年 2 月 8 日（福岡）にて開催し、関係者への普及啓発を図った。

4) 学会での教育セミナーの開催

平成 25 年 8 月 24 日、第 18 回日本難病看護学会学術集会教育セミナーで、「当事者と医療者による新しい医療の実践」を開催した。

A. 研究目的

本研究では、当事者と医療者による新しい医の実践に資するため、PRO (Patient Reported Outcome) の一つである SEI-QoL に着目し、国内の研究状況の調査ならびに、セミナー研修会を通じた啓発活動を行い、受講者の QOL に関する認識の変化を検討し、SEIQoL が当事者と医療者のかけはしのツールとなりうることを目指した。

（倫理面への配慮）

研修参加者へアンケート調査の実施にあたり、無記名であることやプライバシー保持に関する対象への説明を行い、協力は自由意思であることを保証し、回答をもって同意とした。また、研修参加によるデータが匿名性を保持した上で、研究利用されることへの同意を得た。

B. 研究方法

1) SEIQoL に関する国内の研究動向に関する文献調査

医中誌 web にて、「SEIQoL」をキーワードとした文献検索を行った。

2) SEIQoLWeb サイトの構築

関連 Web サイトを構築し、情報提供を図った。

3) SEIQoL 実践セミナーの開催

平成 25 年 2 月 10 日・10 月 27 日（東京）、

C. 研究結果

1. 我が国における SEIQoL 研究の動向

医中誌 web にて、「SEIQoL」で文献検索を行った結果、63 文献が抽出された。63 文献の内訳は、原著（事例・比較研究含む）18 件、会議録 40 件、解説 5 件であった。対象（疾患）別内訳は、筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 19 件、パーキンソン病（若年性含む）11 件、筋ジストロフィー 8 件、消化器がん 5 件、がん性皮膚潰瘍 2 件、脳血管障害 2 件、糖尿病 2 件、多発性硬化症 2 件、ADEM 1 件、うつ 1 件、神経難病（複数）9 件、家族介護者 1 件であった。

2. SEIQoLWeb サイトの構築

「希少性難治性疾患－神経・筋難病疾患の進行抑制と治療効果を得るための新たな医療機器、生体電位等で随意コントロールされた下肢装着型補助ロボット（HAL-HN01）に関する医師主導治験の実施研究」班と共同で、SEIQoL に関する web サイトを構築した。（wwwSEIQoL.jp）

サイト構成は、1）TOP ページ、2）SEIQoL 紹介、3）ユーザー会紹介、4）研究実績・論文紹介、5）セミナー案内、6）FAQ である。サイトからは本研究班の「we are here」へ移行できる。

3. SEIQoL 実践セミナーの開催

「希少性難治性疾患－神経・筋難病疾患の進行抑制治療効果を得るための新たな医療機器、生体電位等で随意コントロールされた下肢装着型補助ロボット（HAL-HN01）に関する医師主導治験の実施研究」班と本研究班の共催セミナーとして、平成 25 年 2 月 10 日（日）（東京国際フォーラム）、平成 25 年 10 月 27 日（日）（帝京平成大学）、平成 26 年 2 月 8 日（土）（九州大学）に、患者主体の QOL 評価法「SEIQoL-DW」を学び、活かす実習セミナーを開催した。参加者は、それぞれ 56 名、48 名、58 名であった。このほか緩和薬学会、国立精神神経センター主催の研修会などに於いて症例提供協力を行った。

4) 学会での教育セミナー開催

1. 第 18 回日本難病看護学会学術集会において、教育セミナー「当事者と医療者による新しい医療の実践」を開催した。当研究班からレジストリシステムの紹介や SEIQoL の基礎についての講演、ならびに患者の立場から SEI-QoL に期待することとして、1) 医療者と患者が気持ちの共有を図れる、患者側として、2) 何が幸せか？ 見つめなおせる 3) 医療の在り方を変える。という 3 つの提言を行った。

5) 研修参加者の SEIQoL 実施状況と認識変化

セミナー参加者の参加時点での SEIQoL 実施状況を表 1 に示す。

H25 年度開催分はほとんどが実践では使用していない者であった。

表 1 SEIQoL 実施状況

	東京会場①	東京会場②	福岡会場
今回のセミナーで初めて知る（知った）	15(26%)	14(29%)	29(50%)
なんとなく知っていたが、セミナーは初めて	31(55%)	20(41%)	26(45%)
以前 SEIQoL について学んだことはあるが、実践はこれから	6(10%)	13(27%)	2(3%)
既に研究として使っている	10(17%)	1(2%)	1(2%)

セミナー内容を表 2 に示す。「演習」については、平成 24 年度は、様式に記入する方式をとったが、平成 25 年度に、本研修会専用開発された seiqol セミナーシステム(R102 社製)を用いて実施し、QOL 評価に関する講義を交え、リアルタイムで集計結果が表示される方法で行った。演習の間になど双方向型の研修会を実現した。

また、東京会場では、織田友里子氏（遠位型ミオパチー）、福岡会場では中野玄三氏（ALS）が患者の立場からみた主観的 QOL と題した講演を行った。中野氏は、自ら作成の DVD から、「ALS はさまざまな物を奪っていったが、心までは奪えない」ということや、「人工呼吸療法は、延命ではなく、治療である」との力強いメッセージがおくられた。

表 2 セミナーの流れ

演習	全体説明/基本情報・アンケート入力・ 模擬症例提示
講義	医療における QOL 評価
演習	EQ5D 1 回目（①Index, ②VAS）
講義	現代における喪失のケアと緩和ケア、難病ケア
講義	QOL とは何か：ケアを改善するために QOL の誤解を解き、 どのように理解するとよいか？
講演	患者の立場からみた主観的 QOL、医療職に期待すること
演習	EQ5D 2 回目（②VAS のみ）
演習	SEIQoL DW, ロールプレイ Cue の抽出 level の決定 Weight の測定
講義・質疑	総合討論
演習	受講後アンケート入力

受講前後の意識の変化として、1「良い医療とは費用対効果の高いものである」2「病状が進むにつれ患者の QOL は低下する」3「QOL は客観的に測

定可能である」の3点を聴取し、その変化を会場別に図1-1～1-3に示す

図1-1: 良い医療とは費用対効果の高いものである

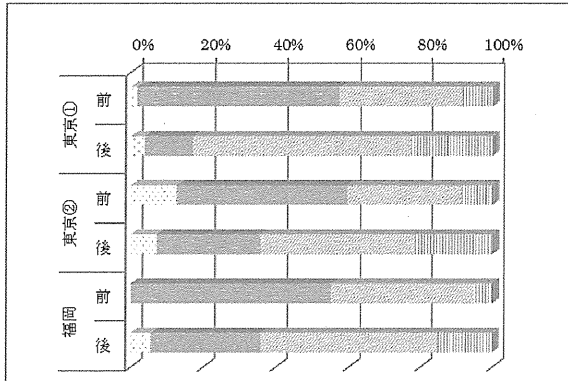


図1-2: 病状が進むにつれ患者のQOLは低下する

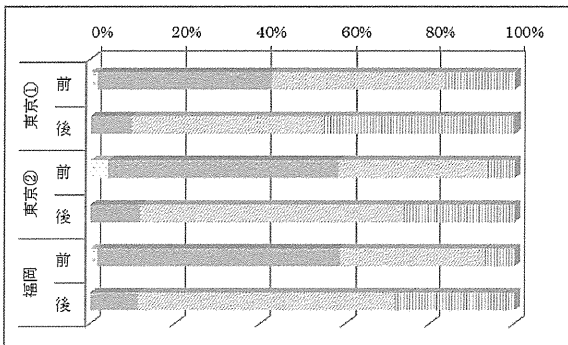
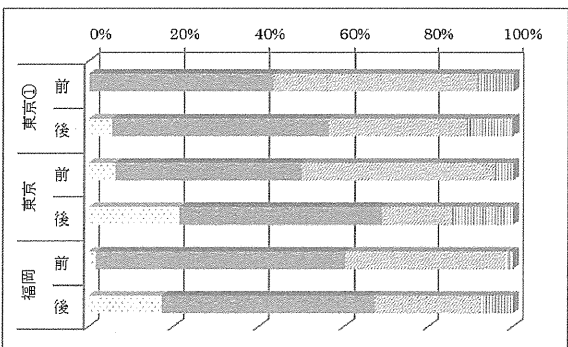


図1-3: QOLは客観的に測定可能である



注: いずれも凡例は、左から全くそう思う～全くそう思わないの4件法にて聴取した。

- 全くそう思う
- まあそう思う
- あまりそう思わない
- 全くそう思わない

どの会場とも、「良い医療とは費用対効果が高

い」「病状が進むにつれ患者のQOLは低下する」については、受講前「そう思う」者の割合が受講後に減り、「QOLは客観的に測定可能である」については、受講前「そう思う」が受講後に増加した。

また、自由記述で得られた SEIQoLDW 実施上の困難点は、「回答者に理解度が求められる」「キューをあげてもらふこと」「対象の理解やフォローが必要」「インタビューの難しさ」であった(表3)。

表3: SEIQoLDW 実施におけるむずかしさ

「SEIQoL-DW」の実施にあたる難しさ	
回答者の理解度が求められる	回答者が理解できるだけの知的レベルがなければ実施できないことや、説明が何度が必要であること。(理解するのに時間がかかる方もいる) SEIQoL-DWの説明をした時に、理解できる知能レベルがないとできないのかなと感じた。 キューの重みが全て同じだと答えられた。
キューをあげてもらふこと	5つあげるのがむずかしい 対象者が明解にCueを定められない時、会話の中から”Cue”を表現した時に誘導になってないかと思う キューが文章のまま、キューの名称が出てこない。 提案リストを真似たキュー/提案リストへの誘導になってしまう。 複数の対象者のCueをデータとしてカテゴリー化しようとする時、そのネーミングが的確なのかまよふ。 回答者のキューの内容が重なる。(狭い) 満足度と重要度の違いの理解が難しい。 高齢者を対象としている為、キューを挙げられないケースが多かった。
対象の理解やフォローが必要	患者様の主観的なQOLを引き出すための評価ですが、本人に現状を再認識して貰う為、涙を流されたり、落ち込まれるという事が見られた為、その後のフォローと面接時間を要しました。 対象との信頼関係が必要
	5項目のキューそのものが変わる事に対する考え方を、どのように理解すればよいのかという事。 変わるということの捉え方や変化をどのように把握していけばよいか
インタビューの難しさ	インタビューの難しさ(聞き手によって患者の気持ちが聞き出せる) 聞き手・インタビューの仕方

D. 考察

我が国の SEI-QoL を用いた研究は、ALS をはじめとする神経難病を中心に展開されてきたといえる。近年、糖尿病など他の慢性疾患における取り組みもなされはじめ、さまざまな疾患、状況別検討も可能になるといえる。63 文献のうち、論文形式であるものは、18 件にとどまっており、実施内容の論文化というところでは、今後の展開が期待される。

SEI-QoL セミナーにおいては、関心やニーズの

高まりが確認された。受講前後の認識の変化も確認ができたが、継続的なものとなるような、継続的な取り組みが期待される。また、初の地方開催も実現し、今後も継続的に実施していけるとよい。アンケート上の実践経験者は少数いたが、それぞれ難しさや疑問を抱えての実践であった。特にキューをあげてもらうことについての困難さがみられ、本セミナーのような実践型のセミナーを希望するニーズも高かった。今後、構築された SEI-QoL サイトの中でも積極的な情報提供、交換が望まれる。SEIQoLDW を標準化し、活用していくためにも、半構成面接での相互作用による介入へ効果など、医療職が身につけるべき技能として SEI-QoL の理念や実践を啓発していくことが引き続き求められているといえる。

E. 結論

PRO の一つである SEI-QoL について、文献調査、サイト構築、啓発セミナーを実施した。セミナー前後での受講者の QOL に対する認識の変化を確認できた。今後、評価ツールとして実践面でのサポートが必要であり、引き続き研修会開催やサイトの充実について検討していく必要がある。

F. 研究発表

1. 論文発表

中山優季, 井手口直子, 川口有美子, 橋本みさお, 織田友理子: 当事者と医療者による新しい医療の実践, 日本難病看護学会誌 18(2), 101-102, 2013

2. 学会発表

中山優季, 井手口直子, 川口有美子, 橋本みさお, 織田友理子, 中島 孝: 難病看護マインドキュメント (教育セミナー) 当事者と医療者の協同による新しい医療の実践, 第 18 回日本難病看護学会, 東京, 2013.8.24, 東邦大学

G. 知的財産権の出願・登録状況

なし

研究への患者の主体的参加——倫理的考察と PRO

研究分担者 松田純 静岡大学人文社会科学部社会科学科 教授

研究要旨

患者の主体的な研究参加のための新たな枠組みを構築する本研究事業の課題を遂行する上で、患者の主体的な研究参加を正当化する諸条件を明確にする。まず(1)倫理的な前提条件を考察し、次に、(2)臨床試験に患者の主観的評価を組み込む枠組みと方法を検討した。

(1)研究者と研究対象者が互いの人格を尊重しあつた上で、意義ある研究のために協力しあう関係が成立するには、病苦をかかえた人々の救済につながる研究を進展させるために貢献しようとする思い (devotion) が研究者と患者の双方になければならない。このことが、被験者を道具化することなく、研究を適切に発展させるための前提条件となる。

(2)その上で、臨床試験において、医師の一方的な評価ではなく、PRO（患者報告アウトカム）を臨床試験の評価に組み込んでいくことによって、患者にとっての「真のベネフィット」を活かした「患者参加型研究」が実現する。しかし、PRO の評価指標や評価方法はまだ開発途上にあり、とくに日本では、その取り組みが遅れている。そこで、米国における PRO 開発の拠点となっている NIH(米国国立衛生研究所)の PROMIS®プロジェクトにおける開発の現況を紹介しつつ、PRO 調査のための質問表のいくつかを試読して、PRO の意義と課題について考察した。

A. 研究目的

患者・家族が自ら語るナラティブを含めた疾患データを収集し、データベース化し、難治性疾患に対する全人的、個別的、継続的データを用いることを可能にするシステムの構築という本研究班の課題を、(1)研究倫理学の視点から評価する。さらに、(2)患者にとっての「真のベネフィット」を活かした「患者参加型研究」の実現のために、PROの開発の重要性と課題を明らかにする。

B. 研究方法

(1)の課題では、わが国に十分知られていないドイツの研究倫理学の最新の文献 Michael Fuchs u. a., *Forschungsethik. Eine Einführung*, 2010 を翻訳し (『科学技術研究の倫理入門』松田純監訳、知泉書館、2013)、先端医科学研究の倫理の要諦を確認した。

(2)の課題では、NIH の PROMIS®サイトにある

Q&A 式の解説 Frequently Asked Questions (FAQs)

の要点を翻訳しつつ、プロミスの活動を紹介し、PRO の質問表の 2 例を試読し、PRO 開発の課題を検討した。

(倫理面への配慮)

日本学術会議「科学者の行動規範」を遵守した。文献研究なので、その他の配慮を特に要しない。

C. 研究結果

プロミスでは、全米の関連研究者を結集して、さまざまな PRO 評価尺度を開発している。身体的機能、不安、うつ症状、疲れ、睡眠障害、社会役割への満足度、痛みによる妨害、痛みの度合いなどの項目についての質問表や、それらを組み合わせたプロフィールなど、多様な評価ツールが開発されている。

報告主体別では、成人の健康に関する自己報告、子供の自己報告、子供の面倒を見ている人 (代理人)

による報告という3種類がある。これらの評価ツールのうち、現在、NIH PROMIS サイトから24の質問表をダウンロードできる。そのうちの2例を試読し、資料として報告書に掲載した。

プロミスのCAT(Computer Adaptive Testing コンピュータ適応テスト)システムは注目に値する。このシステムは、患者のスコアとそのスコアの信頼性を推定した上で、次の最適な項目が選択されるようプログラムされ、患者ごとに個別に仕立てられた評価が可能となっている。患患者や評価者が短時間でできるため、負担も少なく利便性がある。

D. 考察

わが国においてPROの開発を進める場合、まず、先行するプロミスなどの取り組みを精査する必要がある。CAT(コンピュータ適応テスト)システムを開発して行く場合には、これらが、研究への患者の主体的参加を保障する上で、どの程度適切に機能しうるかを個別的に詳細に吟味していく必要があろう。

E. 結論

プロミスでは、多様な評価ツールが開発されているが、そもそも、患者の主観性の数値化は困難な課題である。^{シーコール}SEIQoL(The Schedule for the evaluation of Individual QoL 個人の生活の質評価法)などで蓄積してきたわが国における実践などをふまえ、負担が少なく有効な評価尺度の開発が望まれる。

F. 研究発表

1. 論文発表 (著書、翻訳を含む)

・松田純、生の自由を支える事前指示——ドイツにおける事前指示の法制化と医師による自殺幫助をめぐる議論のなかから、難病と在宅ケア 2012年5月号、vol.18、No.2、17-21、2012

・松田純、在宅医療における医療倫理——尊厳死法と事前指示、薬局2012年8月号、vol. 63、No. 9、29-35、2012

・松田純、医療による願望実現、倫理学年報(日本倫

理学会)、61号、64-67、2012

・松田純、応用倫理学から具体倫理学へ——対人援助職との研究連携のなかから、文化と哲学(静岡大学哲学会) 29号、15-23、2012

・松田純、ドイツにおける患者の事前指示の法制化と医師による自殺幫助をめぐる議論、生命倫理研究資料集(富山大学)、VI、4-18、2012

・松田純、豊胸用シリコン・スキャンダルに揺れる欧州医療機器規制、静岡大学人文社会科学部『人文論集』63号の2、1-11、2013

・松田純、遺伝医療と社会——パーソナルゲノムがもたらす新たな課題、シリーズ生命倫理学 第11巻 遺伝子と医療、丸善出版、1-24、2013

・松田純、事前医療指示の法制化は患者の自律に役立つか?——ドイツや米国などの経験から、理想、692号、78-96、2014

・松田純、倫理的葛藤とコミュニケーション、後藤恵子(編)、ファーマシューティカルケアのための医療コミュニケーション、南山堂、15頁(頁数未定)、2014

・松田純、薬剤師の“臨床倫理” 科学知と人文知の統合を、医薬ジャーナル 編集長 VISITING (349)、Vol. 48、No. 12、2012年12月号、150-157、2013

・松田純、シンポジウムIX サイバニクスを医療・介護に活かす——ロボットスーツ HAL®治験と人支援技術の未来展望、日本生命倫理学会ニューズレター「第25回日本生命倫理学会年次大会座長報告集」、1頁(頁数未定)、2014・

共著

・松田純ほか(共著)(公)MR認定センター教育研修委員会監修、MRテキストIII 医学概論2012、2013年改訂、南山堂、1-230、2013

・松田純・玉井真理子(共編著)、シリーズ生命倫理学 第11巻 遺伝子と医療、丸善出版、1-256、2013

・松田純・青田安史・天野ゆかり・宮下修一(編著)、こんなときどうする? 在宅医療と介護 ケースで学ぶ倫理と法、南山堂、1-150(予定)、2014

翻訳

- ・松田純、ドイツ第三次世話法改正 2009 年の第三次世話法改正（BGB1 I 2286）により改正された民法、生命倫理研究資料集VI 富山大学、117-119、2012
 - ・松田純、医師による患者の自殺幫助と積極的臨死介助についてのドイツの医師へのアンケート調査～病院勤務医と開業医の各分野を反映した無作為抽出調査の結果～アレンスバッハ世論調査研究所 2010 年 7 月、生命倫理研究資料集VI 富山大学、101-116、2012
 - ・松田純・小椋宗一郎（共訳）、ラジ・クリスティアン・シュタイネック、〔ドイツ人から見た〕日本における「インフォームド・コンセント」——文化比較を超えて、死生学・応用倫理研究（東京大学大学院人文社会系研究科）第18号、76-113、2013
 - ・松田純（監訳）、ミヒャエル・フックス（編著）科学技術研究の倫理入門、知泉書館、1-450、2013
- ## 2. 学会発表（学術講演を含む）
- ・松田純、地球と人類の未来への責任——グリーン経済への転換、東芝機械環境講演会、2012 年 6 月 22 日、東芝機械（株）本館 3 階講堂
 - ・松田純、在宅医療・介護をどう支えるか——倫理と法の観点から、静岡大学公開講座「在宅医療・介護のこれからを考える——充実したネットワーク作りを目指して」、2012 年 7 月 3 日、アイセル 21（静岡市葵生涯学習センター）
 - ・松田純、身体拘束と高齢者の人権擁護、平成 24 年度高齢者権利擁護等推進研修「身体拘束廃止推進員養成研修」、2012 年 9 月 10 日、静岡県看護協会研修室
 - ・松田純、薬剤師に求められる倫理とは——薬剤師の人柄と倫理原則、第 45 回日本薬剤師会学術大会特別講演、2012 年 10 月 7 日、アクトシティ（浜松市）
 - ・ドイツにおける患者の事前医療指示の法制化とその後の展開、京都生命倫理研究会・科研費プロジェクト合同研究会、2012 年 12 月 22 日、京都大学
 - ・松田純、遺伝医療の新時代——パーソナルゲノムとどうむきあうか、NPO 法人ヒューマン・ケア支援機構連続講演会、2013 年 3 月 9 日、静岡市産学交流センター
 - ・松田純、特別講演 終末期医療と倫理——事前指示と尊厳死法、日本社会薬学会北海道支部 平成 25 年度総会、2013 年 5 月 19 日、札幌コンベンションセンター
 - ・松田純、iPS 細胞——“夢の治療”それとも人間の変貌？ 清水町教育委員会生涯学習課主催公開講座、2013 年 8 月 23 日、清水町市民ホール
 - ・松田純、願望実現医療と代替医療——ナラディブの役割、財団法人生存科学研究所 第 5 回「代替医療と語り」研究会講演、2013 年 8 月 12 日、（財）生存科学研究所（東京、銀座）
 - ・松田純、事前指示と尊厳死法——日独比較をとおして、ビハラー医療団研修会、2013 年 9 月 8 日、グランシップ（静岡）
 - ・松田純、理学療法士に求められる倫理とは——事例に基づく倫理トレーニング、第 48 回日本理学療法士協会全国学術研修大会講演、2013 年 10 月 5 日、アクトシティ（浜松市）
 - ・松田純、尊厳死法と事前指示は平穏死を保障するか？ からつ塾第 94 回講義、2013 年 10 月 21 日、虹ノ松原ホテル（唐津市）
 - ・松田純、看護における倫理教育のめざすもの、静岡県看護師等養成機関連絡協議会講演会、2013 年 11 月 16 日、静岡県立大学看護学部
 - ・松田純（オーガナイザー）、サイバニクスを医療・介護に活かす——ロボットスーツ HAL®治験と人支援技術の未来展望、第 25 回日本生命倫理学会年次大会、2013 年 12 月 1 日、東京大学、シンポジストは研究班の川口有美子、中島孝、および山海嘉之
 - ・松田純、事前医療指示とコミュニケーション、2014 年 2 月 5 日、鹿児島県難病相談・支援センター（鹿児島市）
 - ・松田純、介護専門職の倫理とは、第 11 期（株）アースリーダー研修会、2014 年 2 月 17 日、グランシップ（静岡市）
 - ・松田純、在宅医療と介護の倫理、2014 年 2 月 20 日、大分ロボケアセンター（別府市）
 - ・松田純、サイバニクスの活用とエンハンスメント——新たな健康概念をふまえて、東京大学 大学院教育学研究科附属バリアフリー教育開発研究センター

公開シンポジウム「最新テクノロジーとバリアフリー」、2014年3月1日、東京大学
・松田純、在宅医療と介護の倫理——病院と違う在宅の特徴とは、2014年3月13日、鈴鹿ロボケアセンター（鈴鹿市）

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし

1. 特許取得 なし

2. 実用新案登録 なし

3. その他 なし

海外における患者登録に関する調査

分担研究者 水島 洋 国立保健医療科学院 研究情報支援研究センター

研究要旨

希少疾患・難病は、症例数が少ないがゆえに、国際的な共同研究や連携が重要である。特に疾患登録については、病気の対策を行う上で、さらに新薬の開発を行う上でも重要な機能をはたすものの、なかなか進んでいない。患者による登録が進んでいる欧州や米国における希少疾患登録に関する調査を行ったところ、研究者による登録や国による登録に加え、患者主体の登録を推進していることが分かった。患者会や民間の患者登録に関しても報告する。

共同研究者

佐藤洋子（東京医科歯科大学）

田辺麻衣

（国立保健医療科学院、東京医科歯科大学）

伊藤篤史（東京医科歯科大学）

山本晃（株式会社 R102）

A. 研究目的

希少疾患・難病は、症例数が少ないがゆえに、その対策や薬の開発などにおいてひとつの国では限度があり、国際的な共同研究や連携が重要である。特に疾患登録については、病気の対策を行う上で、さらに新薬の開発を行う上でも重要な機能をはたすものの、なかなか進んでいない。欧州や米国における希少疾患登録に関する調査を行った。

また、我々の構築している難治性疾患患者を対象とした SNS（ソーシャルネットワークシステム）ベースのポータルサイトでは同一疾患あるいは類似疾患・症状をもつ患者、患者会、患者支援団体間が研究者との連携を強め、主体的に情報発信・情報共有できるシステムの構築を目指している。今後、登録情報の蓄積に伴い、これらを臨床研究に効率的に結び付けるための情報分析法の確立、さらには厚生労働省の研究事業から独立し長期継続可能なシステムにするための体制づくりが必要不可欠となってくる。

B. 研究方法

国際調査のうち欧州に関しては欧州委員会希少疾患専門家委員会、オーファネット、患者登録プロジェクト (EPIRARE)、患者団体連合 (EURODIS) 等の情報収集した。米国については、米国立保健研究所 (National Institutes of Health: NIH) を訪問し、米国における患者登録に関する調査を行い、NIH で構築しているシステムの開発を行っている Patient Crossroad 社の Kyle Brown 氏に来日してもらって面会し、その特徴に関するヒアリングを行った。米国ボストン PatientsLikeMe 社の代表の James Heywood 氏を訪れインタビュー、ディスカッションを行った。インターネット上に公開されている Patitents Like Me (www.patientslikeme.com) のシステムを分析した。PatientsLikeMe のシステムを用いた臨床研究や臨床報告に関する論文検索 (PubMed) を行った。

また、インターネット上に公開されている関連情報を調査分析した。

（倫理面への配慮）

この研究においては、医療行為や個人の医療情報に関する取扱いは行っていないため、倫理面に関する手続きは行っていない。

C. 研究結果

1 欧州における希少疾患対策

希少疾患患者のレジストリーは大きく分けて、国によるもの、学術団体によるもの、製薬会社によるもの、患者によるもの、民間によるものがある。

日本の臨床調査個人票による登録のように、国単位で行っているところはまだ少ないのが現状である。

欧州における希少疾患の定義は、患者数が1万人に5人以下で、有効な治療法が未確立であり、生活に重大な困難を及ぼす非常に重傷な状態であることとされている。その中心的な存在に欧州委員会希少疾患専門家委員会 (European Union Committee of Experts on Rare Diseases: EUCERD) がある。これは2009年の欧州委員会 (EU) の決定に基づいてEU内に立ち上がった委員会で、ここにおいて様々な国際協調政策が行われている。この委員会は、EU加盟国の代表、EUの希少疾患研究プロジェクト代表、患者会、製薬会社など、100名ほどの参加で毎年3回程度、ルクセンブルクにおいて開催されている。会合においては、EUとして行っている各種の希少疾患プロジェクトの進捗や、加盟各国が2013年末までに定めることになっている希少疾患に関する大綱の進捗(約半数が可決)、EUCERDとしてのガイドラインの策定、各種報告書の作成、EU主催の各種イベント、希少疾患に関連する各種の取り組みの話題など、2日間にわたって白熱した議論が行われる。2013年でいったん終了し、2014年2月から新しい委員会として再スタートしている。欧州全体としての登録のための共通プラットフォームの構築などについて議論されている。

イタリアでは地域ごとに登録センターがあり、ここで情報が入力された後、匿名化情報が国の保健省の研究所 (ISS) に集約される形で把握されている。

スペインでも2012年からの希少疾患の登録プロジェクトとしてSpainRDRが行われており、国(カルロス三世保健研究所)としての登録に加え、地

域ごとの登録や、6つの学会、4つの研究ネットワークなどが参加し、様々な面からの登録を支援している。

フランスでも新しい希少疾患対策の一環としての登録制度が準備されており、現在その項目に関する調整が行われている。

EUCERDのプロジェクトの一つとして、希少疾患患者の登録に関しての実態調査を行い、その範囲やデータ項目などの整理を行ったうえで最終的には統一した登録システムの構築を目指すという、EpiRAREプロジェクトがある。欧州には約500の登録プロジェクトがあるとされており、同じ疾患でも各国、各地域で構築されている場合もある。

この調査において、1国内における学術機関(大学等)が登録を行っていることが多いことが示されている。(図1)

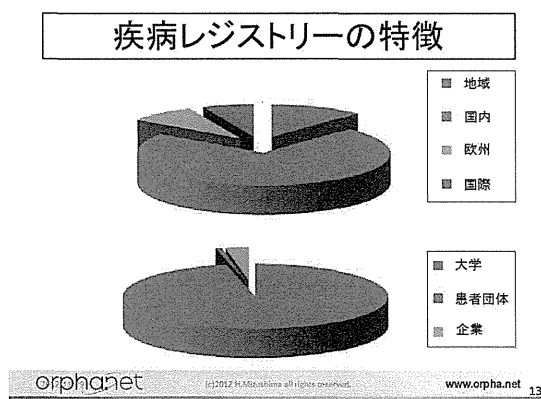


図1 疾病レジストリーの特徴

これらを整理することで、共通登録項目や、その体系などの標準化を行うことは重要である。毎年10月にはローマでWorkshopが開催され、現在の調査の進捗や共通項目に関する議論などが行われ、2013年10月にはEpirareとしての最小データセットを定義した。

2. 米国における希少疾患対策

米国国立健康研究所 (NIH) に設置された希少疾患研究室 (ORDR) は一昨年よりトランスレーシ

ヨナル研究推進センター (NCATS) の所属になり、主に希少疾患研究の推進のための調整や情報提供を行っている。米国では希少疾患の研究の推進を中心に行ってきたおり、患者支援は主に National Organization of Rare Disease : NORD や Genetic Alliance などの NPO や患者会が行っている。Genetic Alliance では 2013 年から患者登録システム Reg4All をスタートさせている。NORD でも同様なサービスを予定している。情報提供に関しては、2012 年より Genetic and Rare Disease Information Center (GARD) を立ち上げているものの、各種情報に対するリンクを中心として構成されており、オフアネットのような辞典的、データベース的なものにはなっていない。

患者登録に関しても直接行わず、患者団体による登録を支援し、ORDR として標準的な形式で収集を進める体制として、Global Rare Disease Patient Registry and Data Repository (GRDR) という仕組みを 2012 年に開始した。患者の重複を避けるための一意になる GUID を採用し、患者会主導による患者による登録システムの共通プラットフォームとしている。(図 2)

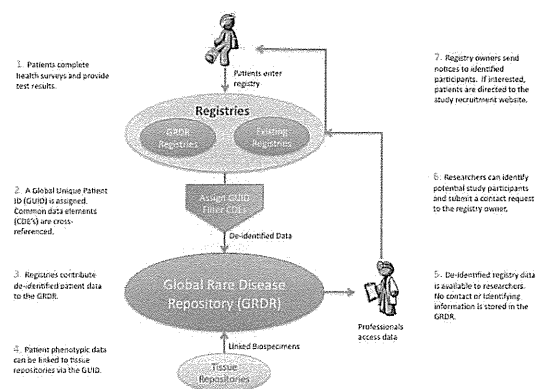


図 2 GRDR の概念図

患者登録で問題となる医学的な品質については、医療関係者がバリデーションを行うように指導している。このシステムを共同開発している Patient Crossroad 社によると、すでに多くの患

者会で採用され、治験情報や症状に合った生活の工夫など、患者の興味に従った情報を提供することで患者自身による日常の情報を入力してもらえたり、治験情報の提供やリクルートなど創薬への推進にも役立っている。

3 民間による患者登録

PatientsLikeMe (www.patientslikeme.com) はアメリカで 2004 年から提供が開始されている患者間情報共有のための SNS システムである。登録は無料で行える。対象疾患は設立当初からの ALS に加え、現在は MS、パーキンソン病、てんかん、HIV-1 感染から精神障害など、難病・希少疾患に限らず多岐に渡っており、2013 年 2 月現在登録者数は 16 万人に及んでいる。ここでは登録者が自らの症状や治療の経過、服薬情報を入力し、それらを公開、登録者間で共有できるようになっている。気分や各症状（痛み、痙攣、眠気など）の変化、服薬状況を記録し、ガントチャート形式で経時的に一覧できるものとなっている。また年齢、性別、更新頻度、症状、治療方法などから他の登録者を検索することができる。検索結果では、年齢、性別、病名、疾患に応じた身体機能状態、使用している医用機器などがイラストに示されており、一目でわかるようになっている。また、自分の健康情報や疾患情報を入力することで臨床試験のマッチング検索ができることも大きな特徴である。

PatientsLikeMe のようなシステムの有用性、収集された情報やデータの解析や臨床応用に関する報告はすでに多数ある。

患者や介護者が自分の病気に関連した情報を閲覧できるようにし、個人の健康情報の共有をすることが、患者にどう影響するかを検討した研究報告 1)によると、利用者たちは掲載された他人の医学情報をよく利用し、治療の判断や症候のコントロールなどの健康に関連した問題の決定について意見交換を活発に行なっていることが明