別紙1

進捗状況申告書

難治性疾患政策研究事業	
（研究課題名）小児呼吸器形成異常・低形成疾患に関する実態調査ならびに診療ガイドライン作成に関する研究（Ｈ２６－難治等(難)－一般－０８４）	
（研究代表者名）臼井 規朗（大阪府立母子保健総合医療センター小児外科）	
（研究期間）　平成２６年度	
研究課題の概要（目的、方法、期待される成果等、200 字程度で記述） わが国における小児呼吸器形成異常・低形成疾患（以下本症）に対する治療の標準化、診療の均てん化、high volume centerへの症例の集約化を目的として、実態調査を実施して科学的根拠を集積・分析する。さらに診断基準（診断の手引き）や重症度分類を作成したうえで、主たる学会・研究会との連携の下に診療ガイドラインを作成する。その結果、本症の治療成績の向上に加え、難病指定や小児慢性特定疾患の指定を通じて本症に対する社会保障制度の充実が期待される。	
対象疾患リスト (1) 先天性横隔膜ヘルニア (2) 先天性嚢胞性肺疾患 (3) 気道狭窄 (4) 頚部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症	
目標・成果物	(1)-1.先天性横隔膜ヘルニアの診断基準・重症度分類を策定する。 （平成 26 年 4 月までに） (1)-2.先天性横隔膜ヘルニアの診断基準・重症度分類について、 日本小児外科学会、日本周産期新生児医学会での承認を得る。 （平成 26 年 7 月までに） (1)-3.先天性横隔膜ヘルニアの診療ガイドラインを策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (1)-4.先天性横隔膜ヘルニアの診療ガイドラインについて 日本小児外科学会、日本周産期新生児医学会の承認を得る。 (平成 27 年 7 月までに) (1)-5.先天性横隔膜ヘルニアの症例登録制度を開始する。 (平成 27 年 12 月までに) (1)-6.先天性横隔膜ヘルニアに関する介入研究を開始する。 (平成 28 年 4 月までに) (2)-1.先天性嚢胞性肺疾患の診断基準を策定する。 （平成 26 年 4 月までに） (2)-2.先天性嚢胞性肺疾患の診断基準について日本小児外科学会の 承認を得る。 （平成 26 年 3 月までに）

	(2)-3.先天性嚢胞性肺疾患の重症度分類を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (2)-4.先天性嚢胞性肺疾患の重症度分類について日本小児外科学会の承認を得る。 （平成 27 年 3 月までに） (2)-5.先天性嚢胞性肺疾患の診療ガイドラインを策定する。 （平成 29 年 3 月までに） (2)-6.先天性嚢胞性肺疾患の診療ガイドラインについて日本小児外科学会の承認を得る。 （平成 29 年 3 月までに） (3)-1.小児気道狭窄の診断基準を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (3)-2.小児気道狭窄の診断基準について日本小児外科学会、日本小児耳鼻咽喉科学会、日本小児呼吸器学会の承認を得る。 （平成 26 年 11 月までに） (3)-3.全国調査を行い小児気道狭窄患者の実態を把握する。 （平成 26 年 11 月までに） (3)-4.小児気道狭窄の診療ガイドラインを策定する。 （平成 29 年 3 月までに） (4)-1.頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫の診断基準を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (4)-2.頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症の診療ガイドラインを策定する。 （平成 27 年 12 月までに） (4)-3. 頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症の診療ガイドラインについて、日本小児外科学会、日本形成外科学会、日本放射線科学会、日本皮膚科学会、日本耳鼻咽喉科学会、日本小児科学会、日本小児血液・がん学会等の承認を得る。 （平成 28 年 12 月までに） (4)-4.作成済の登録システムを用いた web 調査研究を行う。 （平成 28 年 10 月までに）

進捗状況 **(1 年目)**	平成 26 年度第一回全体班会議（平成 26 年 4 月 29 日：東京） (1)先天性横隔膜ヘルニアに関する分科会班会議進捗状況 ① 平成 26 年 5 月 9 日　平成 26 年度第 1 回先天性横隔膜ヘルニアガイドライン作成グループ班会議（大阪） ② 平成 26 年 5 月 17-18 日　平成 26 年度第 1 回新生児横隔膜ヘルニア研究グループ Systematic Review team 会議（東京） ③ 平成 26 年 6 月 7-8 日　平成 26 年度第 2 回新生児横隔膜ヘルニア研究グループ Systematic Review team 会議（名古屋） ④ 平成 26 年 7 月 13 日　平成 26 年度第 3 回新生児横隔膜ヘルニア研究グループ Systematic Review team 会議（東京） ⑤ 平成 26 年 7 月 14 日　平成 26 年度第 1 回新生児横隔膜ヘルニア研究グループ分科会 Systematic Review team supporters’会議（千葉） ⑥ 平成 26 年 9 月 6-7 日　平成 26 年度第 4 回新生児横隔膜ヘルニア研究グループ Systematic Review team 会議（名古屋） ・ 新生児横隔膜ヘルニア診療ガイドラインを策定するにあたり、クリニカルクエスチョン（以下、CQ）を 10 題作成し、全ての CQ に関する文献検索を終了した。Systematic Review team を中心に会議を重ね、一次スクリーニング、二次スクリーニングシステマティックレビューを完了した。CQ によっては既に仮推奨文を完成しており、9 月末までに全 CQ の仮推奨文を完成する。その後、研究班会議で推奨文の作成を行った後に、デルフィ変法などによる外部評価を行い、ガイドライン制定に至る予定である。 ・ 策定後に日本小児外科学会、日本周産期新生児医学会理事会に諮り、審議に入る予定である。 (1)の目標達成の見込み：(1)-1. (1)-2.は目標達成を完了した。(1)-3.は今年度中に達成の見込みである。(1)-4.は(1)-3.の完了後直ちに審議に諮る予定である。 (2)先天性嚢胞性肺疾患に関する分科会班会議進捗状況 ・ 昨年度からの本邦における過去 20 年間の先天性嚢胞性肺疾患症例に関する全国調査・登録を終了し、拠点的 10 施設の合計 443 例について二次調査結果の集計を完了した。これより嚢胞性肺疾患に関する分科会において、診断基準ならびに重症度分類案を策定した。上記策定案の完成と学会承認に向けて現在作業を行っている。 ・ 今後の計画（修正点等）： 上記の診断基準ならびに重症度分類案の完成と学会承認に向けて作業を継続する。診療ガイドラインのスコープを完成し、システマテイック・レビューを進める。 ・ 目標達成の見込み：

	診断基準ならびに重症度分類の策定に関しては、今年度内に目標を達成できる見込みである。診療ガイドラインの策定および学会承認についての１年目の進捗は予定通りであり、来年度以降研究継続が認められれば、研究期間内に目標を達成できる見込みである。 (3)気道狭窄に関する分科会班会議進捗状況 ① 平成 26 年 4 月 29 日 第 1 回気道狭窄研究グループ分科会会議(東京) ② 気道狭窄研究班会議は、電子会議を週１回程度開催している。 ③ 全国実態調査（1 次調査）を全国 386 施設にて施行した（8 月～9 月）。 ・ 今後の計画（修正点等）： 全国実態調査（2 次調査）を 9 月より開始した。10 月末に回収し、11 月中に集計結果を解析する予定である。その結果をふまえて、小児気道狭窄症の診断基準を作成する予定である。 ・ 目標達成の見込み： １次調査にて 72.5%の回収率が得られている。2 次調査においても非常に信頼性の高いデータが得られる可能性が高い。今までに把握された事のない小児の気道狭窄に対する基礎データが得られれば、目標達成できるものと考えている。 (4)頚部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症に関する分科会班会議進捗状況 ① 平成 26 年 4 月 29 日 第 1 回リンパ管疾患研究グループ分科会会議(東京) ② 平成 26 年 7 月 12 日 第 2 回リンパ管疾患研究グループ分科会会議(東京) ③ メール会議による Web 調査研究項目決定 ④ メール会議によるクリニカル・クエスチョン決定 ・ 今後の計画（修正点等）： SCOPE の確定−システマティック・レビュー（平成 26 年度末の予定） Web 調査開始（平成 27 年 3 月の予定） ・ 目標達成の見込み： 予定通り進捗しているので目標達成できるものと考えている。
	進捗上の問題点（ある場合に記入） (1)先天性横隔膜ヘルニアに関して、診療ガイドライン作成を進めるにあたり、Minds 主催の講習会を受講してきたが、希少疾患に対する診療ガイドライン作成については Evidence レベルの低い文献（観察研究、症例報告など）しか存在しないために従来の介入研究やシステマティックレビューを主体とした既存の診療ガイドライン作成方法と合致しない点が多々あった。そのため、我々の判断で GRADE システムを用いた文献評価を行い、観察研究のエビデンスも加味した診療ガイドラインの作成に取り組んでいる。

	(3)気道狭窄に関して、全国調査の進捗が当初の予定より 1 か月程度遅れているが、2 次調査結果の回収を積極的に進める事で、年内に結果を解析することを目指している。 (4)の頚部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症に関して、頚部・胸部リンパ管疾患ガイドラインは、他に同時に作成されつつある腹部のガイドライン、体表・軟部組織のガイドラインと最終的に統合するため、お互いの調整を行うために一定の時間を要することが判明した。

別紙2

研究成果申告書

難治性疾患政策研究事業	
（研究課題名）児呼吸器形成異常・低形成疾患に関する実態調査ならびに診療ガイドライン作成に関する研究（Ｈ２６－難治等(難)－一般－０８４）	
（研究代表者名）臼井 規朗（大阪府立母子保健総合医療センター小児外科）	
（研究期間）　平成２６年度	
研究課題の概要（目的、方法、期待される成果等、200 字程度で記述） わが国における小児呼吸器形成異常・低形成疾患（以下本症）に対する治療の標準化、診療の均てん化、high volume center への症例の集約化を目的として、実態調査を実施して科学的根拠を集積・分析する。さらに診断基準（診断の手引き）や重症度分類を作成したうえで、主たる学会・研究会との連携の下に診療ガイドラインを作成する。その結果、本症の治療成績の向上に加え、難病指定や小児慢性特定疾患の指定を通じて本症に対する社会保障制度の充実が期待される。	
対象疾患リスト (1)先天性横隔膜ヘルニア (2)先天性嚢胞性肺疾患 (3)気道狭窄 (4)頚部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症	
目標・成果物	(1)-1.先天性横隔膜ヘルニアの診断基準・重症度分類を策定する。 （平成 26 年 4 月までに） (1)-2.先天性横隔膜ヘルニアの診断基準・重症度分類について、 日本小児外科学会、日本周産期新生児医学会での承認を得る。 （平成 26 年 7 月までに） (1)-3.先天性横隔膜ヘルニアの診療ガイドラインを策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (1)-4.先天性横隔膜ヘルニアの診療ガイドラインについて、 日本小児外科学会、日本周産期新生児医学会の承認を得る。 (平成 27 年 7 月までに) (1)-5.先天性横隔膜ヘルニアの症例登録制度を開始する。 (平成 27 年 12 月までに) (1)-6.先天性横隔膜ヘルニアに関する介入研究を開始する。 (平成 28 年 4 月までに) (2)-1.先天性嚢胞性肺疾患の診断基準を策定する。 （平成 26 年 4 月までに） (2)-2.先天性嚢胞性肺疾患の診断基準について、日本小児外科学会の 承認を得る。 （平成 26 年 3 月までに）

	(2)-3.先天性嚢胞性肺疾患の重症度分類を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (2)-4.先天性嚢胞性肺疾患の重症度分類について、日本小児外科学会の承認を得る。 （平成 27 年 3 月までに） (2)-5.先天性嚢胞性肺疾患の診療ガイドラインを策定する。 （平成 29 年 3 月までに） (2)-6.先天性嚢胞性肺疾患の診療ガイドラインについて、日本小児外科学会の承認を得る。 （平成 29 年 3 月までに） (3)-1.小児気道狭窄の診断基準を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (3)-2.小児気道狭窄の診断基準について、日本小児外科学会、日本小児耳鼻咽喉科学会、日本小児呼吸器学会の承認を得る。 （平成 26 年 11 月までに） (3)-3.全国調査を行い小児気道狭窄患者の実態を把握する。 （平成 26 年 11 月までに） (3)-4.小児気道狭窄の診療ガイドラインを策定する。 （平成 29 年 3 月までに） (4)-1.頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫の診断基準を策定する。 （平成 26 年 12 月までに） (4)-2.頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症の診療ガイドラインを策定する。 （平成 27 年 12 月までに） (4)-3. 頸部・胸部リンパ管腫・リンパ管腫症の診療ガイドラインについて、日本小児外科学会、日本形成外科学会、日本放射線科学会、日本皮膚科学会、日本耳鼻咽喉科学会、日本小児科学会、日本小児血液・がん学会等の承認を得る。 （平成 28 年 12 月までに） (4)-4.作成済の登録システムを用いた web 調査研究を行う。 （平成 28 年 10 月までに）
目標・成果物の達成状況(1年目評価時点)	(1)-1.達成済み（平成 26 年 4 月）・・・資料１ (1)-2.達成済み（平成 26 年 7 月） (1)-3.達成見込み（平成 27 年 3 月） →平成 26 年 12 月現在、診療ガイドライン(案)作成まで達成。 ・・・資料２、資料３ (1)-4.達成見込み（平成 27 年 7 月） →(1)-3.完了後に関連学会（日本小児外科学会学術先進委員会、

	日本周産期新生児医学会理事会)、Minds に本ガイドラインについての審議および評価を依頼する予定。 (1)-5.達成見込み（平成 27 年 12 月） →短期予後と長期予後に関する電子症例調査登録票は作成済み。 (1)-6.未達成 (2)-1.達成見込み（平成 27 年 3 月）・・・資料４ (2)-2.達成見込み（平成 27 年 3 月） (2)-3.達成見込み（平成 26 年 12 月）・・・資料４ (2)-4.未達成（平成 27 年 3 月まで達成見込みなるも現時点で未着手） (2)-5.達成見込み（平成 29 年 3 月までに）・・・資料４ (2)-6.未達成（平成 29 年 3 月まで達成見込みなるも現時点で未着手） (3)-1.達成済み（平成 26 年 11 月）・・・資料５ (3)-2.達成済み（平成 26 年 11 月） (3)-3.達成見込み（平成 27 年１月）・・・資料６ (3)-4.未達成 (4)-1.達成済み（平成 26 年 12 月）・・・資料７ (4)-2.達成見込み（平成 27 年 12 月）・・・資料８ SCOPE の作成まで終了した。本年度中にシステマティックレビュー作業を終える予定。 (4)-3.達成見込み（平成 28 年 12 月） (4)-4.達成見込み（平成 28 年 10 月）
目標・成果物の達成状況(2 年目評価時点)	
目標・成果物の達成状況(3 年目評価時点)	