

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

QOL 調査の研究計画立案の研究

研究分担者：猪井 佳子(日本マルファン協会・代表理事)

織田 友理子(特定非営利活動法人PADM・理事)

加藤 志穂(再発性多発軟骨炎(RP)患者会・事務局長)

近藤 健一(シルバー・ラッセル症候群ネットワーク・代表代行)

永松 勝利(再発性多発軟骨炎(RP)患者会・代表)

研究要旨

患者主体のレジストリJ-RAREでは、従来の医師・研究者主導型によるレジストリとは異なり、患者自身が疾患情報や日常生活の情報を登録する。疾患情報に偏ることなく、患者の生活に関する幅広い情報が蓄積されていくため、患者のQOL把握の一助となることが期待できる。特に、希少疾患の場合には、患者数が少なく、全国に散らばる患者のデータを効率的に集めることは非常に困難であるが、J-RAREを利用することによって、これまで明らかでなかった患者の生活実態に関するデータを収集でき、QOL調査と評価に活用できると考えられる。

患者が自主的に疾患情報、日常情報を登録するJ-RAREは、日々の生活における課題の明確化や患者のQOL調査に有用であり、本研究では、その実施計画の立案に向けての検討を行った。RP患者会では、2014年度に患者会による実態調査を実施した際、QOL調査も行ったことから、今後の継続的な調査実施にJ-RAREを導入すべく、主に調査内容について検討した。

調査項目は挙げればきりが無い程考えられるが、調査目的を明確にし、その目的を達成するための全体的なボリュームと期間を定めることが重要である。

シルバー・ラッセル症候群(以下、SRS)は、多くの医師が認めるほど症状の有無や種類、程度などに大きな幅がある。それにともなって、医療、福祉、教育、就労、衣食住も多様である。そこで、本研究では、『患者・患者組織のQOL調査研究のためのガイドライン(第一版)』(本研究班作成)を参考にSRS患者のQOL調査作成・実施することを目指し、リサーチクエスションを設定するための情報収集を行った。特に、教育については、新平鎮博先生(国立特別支援教育総合研究所 上席総括研究員)にご協力いただき、SRSの教育課題を整理し、質問票を作成した。今後は、患者やその家族に寄り添って困りごとを収集し、医療、福祉、教育、就労、衣食住を細かくグループ分けした上で、先行研究や専門家の助言を取り入れ、リサーチクエスションを設定することを検討している。

A 研究目的 マルファン症候群

J-RARE は、MFS(類縁疾患含む)患者が自ら患者レジストリに登録し、データを蓄積することで、有効な治療やQOL向上に繋がることが期待される。

そこで、本研究はMFS(類縁疾患含む)患者家族に対しての、QOL調査の研究計画立案を目的とする。

再発性多発軟骨炎

疾患を克服するためには治療研究の推進だけでなく、患者のQOL向上も重要な要素であるが、患者数が少なく、データの収集が困難な希少疾患においては、患者の生活実態は明らかになっていないことが多い。疾患と闘う患者がより質の高い生活を送る

ためには、生活実態からその課題を明確化し、患者のQOLを調査することが必要である。患者が主体となって情報を登録するJ-RAREは医療者や研究者主導によるレジストリでは把握できない患者の日常情報を蓄積しており、QOL調査の実施に有用であると考えられる。

本研究では、J-RAREを利用して患者のQOL調査を実施する際の課題を浮き彫りにしてより効果的な調査計画の立案を行うことを目的とした。具体的には、2014年に患者会主導で実施した患者実態調査におけるQOL調査の結果をふまえて、今後J-RAREを用いた継続的な調査実施に向けての項目検討を行った。

遠位型ミオパチー

QOL調査を行なうに際し、調査項目の選

定、調査項目の数及び量、調査期間、並びに調査方法等を立案する必要があり、患者の置かれる実態をより正確にかつより多く得ることが出来るよう計画の立案を行なった。

シルバー・ラッセル症候群

本研究では、『患者・患者組織のQOL調査研究のためのガイドライン(第一版)』(本研究班作成)を参考にSRS患者のQOL調査作成・実施のために、ファーストステップとして、リサーチクエスチョンを設定するための情報収集を行った。

B 研究方法

マルファン症候群

J-RARE への患者のリクルート・利活用について、平成24・25年度の厚労科研の交付を受け構築した、患者団体等が主体的に運用する疾患横断的な患者レジストリ J-RARE 説明会や交流会時に、マルファン症候群患者家族が何に困り、何を知りたがっているのかを聞きとることとした。

再発性多発軟骨炎

当患者会による患者実態調査・QOL 調査以前に、RPに関するQOL調査や研究の実績の存在は患者会において把握しておらず、先行研究は存在しないと考えられる。

患者会による実態調査では、QOL 調査として患者のADLや精神面についてなど、幅広い項目について調査を実施し、調査結果から、気道症状のある患者のQOLの維持が課題であることが浮き彫りとなった。そのため、今後J-RAREを利用して継続的なQOL調査の実施に向けて重点的に検討する項目として設定し、今回の調査結果の分析をふまえ、具体的な内容について、患者会役員が中心となって検討を行った。

遠位型ミオパチー

調査スケジュール)

9月30日付、遠位型ミオパチー会員134名への発送

11月1日(独)国立精神・神経医療研究センターで行われた「遠位型ミオパチー市民公開講座」で一般の遠位型ミオパチー患者に配布

+ =140部の回答用紙を配布

11月9日J-RARE上のWebページにて公開

11月28日締め切り

調査項目1

【1.本人の基本情報】

1.ご本人の基本情報に関わる質問項目

【2.日常生活と重症度に関わる質問項目】

2-1.時間経過による進行評価表

(移動能力に特化したグレーディング

評価-Vignos scale)

2-2.日常生活と重症度に関わる質問項目

【3.日常生活と福祉・介助用品に関わる質問項目】

3-1.杖の使用に関して、下記項目にお答えください

3-2.現在使用している装具に関して、下記項目にお答えください

3-3.現在使用している車椅子に関して、下記項目にお答えください

3-4.車椅子体圧分散クッションに関して、下記項目にお答えください

3-5.電動ベッドに関して、下記項目にお答えください

3-6.就寝時マットに関して、下記項目にお答えください

3-7.リフトに関して、下記項目にお答えください

3-8.人工呼吸器の使用に関して、下記項目にお答えください

3-9.胃ろうに関して、下記項目にお答えください

3-10.その他、福祉・介助用品に関して、下記項目にお答えください

調査項目2

【4.介助者に関わる質問項目】

4-1.介助者に関して、下記項目にお答えください

4-2.外部介助者(ヘルパー)に関して、下記項目にお答えください

【5.リハビリテーションに関わる質問項目】

5-1.リハビリテーションに関して、下記項目にお答えください

【6. ストレッチに関わる質問項目】

6-1.ストレッチに関して、下記項目にお答えください

【7. その他自由記入】

7-1.その他、自由に記入ください

シルバー・ラッセル症候群

SRSは、多くの医師が認めるほど症状の有無や種類、程度などに大きな幅がある。それにともなって、医療(治療方法や期間など)福祉(障害者手帳の有無や等級などに伴う各種サービスや手当など)教育、就労、衣食住も多様である。その上で、健常者と同様に、年齢や性別、所得や家庭環境、地域差などを加味すると、ひとりひとりが求めるQOLは大きく異なることが予想される。本研究では、医療、福祉、教育、就労、衣食住などの候補を挙げ、それぞれ、専門家の助言のもと、情報収集をした。

(倫理面への配慮)

本研究での患者レジストリでは、難病患

者の非常に機微性の高い情報を収集・蓄積する。そのため、収集にあたっては、関連法規・指針（個人情報保護に関する法律、疫学研究に関する倫理指針、医療・介護関係事業者における個人情報の適切な取扱いのためのガイドライン、医療情報システムの安全管理に関するガイドライン、個人情報の保護に関する法律についての経済産業分野を対象とするガイドライン、など）および「医療等分野における情報の利活用と保護のための環境整備のあり方に関する報告書」を参考にし、分担研究者でもある法律系研究者らとともに内規を作成した。

なお、本研究班の患者レジストリへの登録は患者の自由意志に基づいている。登録にあたっては、包括同意と個別同意を組み合わせ合わせた動的同意とよばれる方法によってインフォームドコンセントを得るようにした（動的同意とは、登録の際に情報取得と利用について説明し、さらに実際に登録情報を利用する際にあらためて説明を行う手法である）。

C 研究結果

マルファン症候群

MFS は、個人差の大きい疾患である。指定難病を求める患者や、すでに障害手帳を持っている患者や、疾患について隠したい患者がいる。説明会に集まった患者の状況も様々であった。その中で、内科治療が進むこと、安定した就労への希望は共通項であった。

そこで、QOL 調査の研究計画立案の研究として、MFS(類縁疾患含む)は、平成 27 年度に就労に関する調査を行う。

研究計画の立案

マルファン症候群(類縁疾患含む)はQOL調査として、平成27年度就労に関する調査を行う

- ・調査目的
診断や発症や手術は、就労にどのような影響を及ぼすのか
どのようなサポートがあれば働きやすいのか
- ・方法
説明は、他疾患でも使えるものを目指す
自由記述から、患者の本音を引き出す
- ・参考調査
膠原病・リウマチなどの就労調査
難病患者等の日常生活と社会福祉ニーズに関するアンケート調査

J-RARE.net

再発性多発軟骨炎

調査結果から見えてきた課題は以下の通りである。

再発性多発軟骨炎 (RP) は耳や鼻をはじめ全身の軟骨組織に炎症を繰り返し起こし、組織の変形をきたす疾患であるが、中でも気管、気管支など気道に症状のある患者においては、呼吸苦や繰り返す咳や痰などの症状が顕著に表れるため、QOL が著しく低下する例が見られた。また、実際の症状による不安のみならず、生命に関わる重篤な症状である気道症状を有するということへ

QOL調査の研究計画の立案

《結果から分かったこと》

- ・気道手術(ステント留置、気管切開等)の患者のQOL低下が感じられる(気道手術経験16.7%)
- ・患者の大半が呼吸器症状の経験があり(52.4%)軽度患者も呼吸器病変への精神的不安が大きい(悪化への不安90.5%)
- ・専門的治療へのアクセスの困難さを感じている(治療の不安:42.9%)

J-RARE.net

QOL調査の研究計画の立案

《調査内容》

- ・気道手術経験者のQOL調査
- ※RP患者及びその他の疾患での気道手術患者
- ・気道手術経験者の病歴
- ～初発症状から初発時の治療及び気道手術までの経緯

《調査の目的》

膠原病類縁疾患の中でも、呼吸器に症状が出るのはRPのみであり、未だ10%の死亡率がある。患者のこの症状への不安は大きく、気道手術経験患者のQOLを明らかにすることが、RPの実態を明らかにすることとなる。

J-RARE.net

の精神的不安、RP 特有の気道病変に対応できる専門医の不足から治療への不安も非常に大きく、QOL 低下に影響を及ぼしていることが推測された。

こうした結果を踏まえ、RP の QOL 調査において、気道病変のある患者の中でも特に日常生活に大きな制限を強いられる気道手術経験者の QOL 調査の実施について議論し、その調査内容について検討を行った。

遠位型ミオパチー

用紙から 60 件、Web から 16 件の回答が回収されたが、用紙による回答のうち 1 件は同意書が欠損しており解析から除外した。よって、有効回答は、用紙による回答が 59 件、Web 回答が 16 件の合計 75 件となり、最終的な有効回答数は 53.6%となった。

調査対象者の特性を表 1 に示す。対象者の半分近くが VS でグレード 7 (n=34, 45.3%) であり、本調査では比較的重症な患者がサンプリングされた。また、杖の使用者 (n=54, 72.0%) や車いすの使用者 (n=49, 65.3%) 介助を受けているもの (n=53, 70.7%) が過半数を超える結果となった。

調査結果詳細については、II-7 QOL 調査結果の検討 の項にて述べる。

シルバー・ラッセル症候群

医療については、SRS において考えられる症状 (主症状、副症状、合併症) や治療法の洗い出しをした。症候群であることから、全身に症状があらわれる可能性が考えられ、検討すべき項目が数多く挙げられた。

福祉については、保健所を訪問し、現

在、どのような福祉サービスがあるのかヒアリング調査を実施した。小児慢性特定疾病や指定難病ではないため（平成 27 年 5 月現在）一部制度を除いては、自治体によって異なることが明らかとなった。

教育については、新平鎮博先生（国立特別支援教育総合研究所 上席総括研究員）にご協力いただき、SRS の教育課題を整理し、質問票を作成した。

就労については、会員の子供（患者）が就労する年齢に達し始めたことにより、成人患者を中心に困りごととして上がり始めている。

衣食住については、患者やその家族が困りごととして関心が高いものの一つであるが、長年、医療や福祉、教育、就労からこぼれ落ちてきた。その分、どこから手をつけて良いか難しく、検討段階である。

D 考察

マルファン症候群

MFSは平成27年1月より小児慢性特定疾病に、平成27年7月より指定難病の対象となることとなった。そのため、新たな難病対策においては今後、MFS他、対象疾患ごとの難病患者データベースが構築されていくであろう。しかしながら、実情としては、地域によっては子育て支援を目的とした子ども医療費助成制度の充実により、小児慢性特定疾病制度を利用しないケースも少なくない。また、重症度によって難病制度の対象とならない患者もいる。そのため、制度を利用しない患者データの受け皿として、J-RAREが機能する可能性と必要性は高いと考える。もちろん、小児慢性特定疾病制度や指定難病医療費助成の積極的な周知も必要である。よりよい難病患者就労サポート事業となるための提言ができるよう、また実際に患者の就労に役立つよう、J-RAREで行うMFSの就労に関するQOL調査には、より多くの患者参加が必要であり、そのために当会および類縁患者会において、今後もJ-RAREの説明会を行い、役割分担についても話し合いたい。また、QOL調査の前に、MFS患者への広報窓口となる当会ホームページを見やすく改修し、アクセス数を伸ばした状況を整えたい。

QOL調査の研究計画の立案

《検討課題》

呼吸器病変有りの患者まで対象を広げるか
～外科的処置の有無にかかわらず、日常生活への支障により、QOL低下が大きいため

再発性多発軟骨炎

RPのQOL調査における調査内容として、手術経験者のみを対象としたが、気道病変を抱える患者は手術経験の有無にかかわらず、日常生活への制限を受ける場合が多いため、調査対象を広げ、より幅広い対象者への調査実施の検討も必要である。

遠位型ミオパチー

気を付けていたものの、調査項目が多岐にわたってしまい、全体的なボリュームが少し多くなってしまった。ただ、患者実態を知る上では、項目が多かった分、詳しく調査することができたとも言える。また、より充分な回答期間を持てるように、より前倒しでの準備が必要であった。

E 結論および今後の展望

患者の QOL 向上を図るため、患者の日常生活についてその実態、QOL を調査する重要性は年々高まっている。患者主体によるレジストリ J-RARE は、患者自身が発信する情報を蓄積することができ、QOL 調査の実施にも有用であると考えられ、本研究では、J-RARE を利用した継続的な QOL 調査実施に向けての調査項目の検討を行った。今回の調査項目の設定には更に検討を重ねることが必要であるが、今後は、複数の疾患患者が参加する J-RARE の利点を活かし、別の疾患で同様の症状を持つ患者を対象とした調査項目の設定なども視野に入れての調査実施にも期待する。

今後も QOL 調査を継続していくことはもちろん重要であるが、それに加え、如何に患者に情報をフィードバックして、日々の生活に活かして QOL が向上したと実感してもらえるようにしていく必要がある。

SRS は、多くの医師が認めるほど症状の有無や種類、程度などに大きな幅がある。それにともなって、医療、福祉、教育、就労、衣食住も多様である。ひとりひとり異なる状況をどのように切り取り、QOL を測ることは、難しいことが明らかになった。しかし、患者やその家族に寄り添って困りごとを収集し、先行研究や専門家の助言を取り入れ、それぞれを細かくグループ分けすることにより、リサーチクエスションを設定することもできるのではないかと考えている。

F 平成 26 年度研究発表

III .研究成果の刊行物に関する一覧表および IV .研究成果の刊行物・別刷を参照。

G 知的所有権の出願・取得状況

- 1 . 特許取得
なし
- 2 . 実用新案登録
なし
- 3 . その他
なし

