

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

今後の課題・展望

研究代表者：荻島 創一 (NPO 知的財産研究推進機構・プロジェクトメンバー)
研究分担者：伊藤 建雄 (日本難病・疾病団体協議会・代表理事)
森 幸子 (日本難病・疾病団体協議会・副代表理事)
森田 瑞樹 (東京大学・特任研究員)
西村 邦裕 (NPO 知的財産研究推進機構・プロジェクトメンバー)
安念 潤司 (中央大学法科大学院・教授)
森崎 隆幸 (国立循環器病研究センター・部長)
鈴木 登 (聖マリアンナ医科大学・教授)
森 まどか (国立精神・神経医療研究センター病院・医師)
緒方 勤 (浜松医科大学小児内分泌学・教授)
平田 恭信 (東京通信病院・院長)
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)
和田 美紀 (アイザックス症候群りんごの会・代表)
渡辺 至俊 (レーベル病患者会)
江本 駿 (NPO 知的財産研究推進機構・プロジェクトメンバー)
研究協力者：西村 由希子 (NPO 知的財産研究推進機構・理事)

研究要旨

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のデータの収集・分析による難病患者のQOL向上及び政策支援のための基礎的知見の収集において、難病患者による疫学データ、QOLデータの継続的な収集が重要である。厚労科研により構築した患者レジストリJ-RAREにより今後も継続的に収集する。J-RAREは個人情報をも併せて管理する患者主導型患者レジストリとしては、知りうるかぎりわが国で唯一であり、難病患者による疫学データ、QOLデータの収集はもちろん、個人情報をも併せて管理することで、生涯にわたる追跡調査が可能である。国が平成27年度から計画している難病患者データベース等との連携が可能であり、国内外の連携を視野に、幅広い難病患者によるデータを集積する患者情報基盤としての患者レジストリの整備を目指している。本研究では、今後の課題・展望について述べる。

A 研究目的

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のデータの収集・分析による難病患者の QOL 向上及び政策支援のための基礎的知見の収集において、難病患者による疫学データ、QOL データの継続的な収集が重要である。厚労科研により構築した患者レジストリ J-RARE により今後も継続的に収集する。本研究では、今後の

課題・展望について述べる。

B 研究方法

J-RARE による QOL 向上及び政策支援のための基礎的知見の収集について、今後の課題・展望について検討した。

(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

J-RARE は今後も引き続き、(1)希少・難治性疾患患者が患者登録し、日々の記録、通院の記録、病歴、アンケートによる患者情報蓄積、(2)希少・難治性疾患の臨床研究や治験に参加する患者や医療機関(医師)をつなげることを目指す。その際に、患者主導の定期的な QOL 調査による患者実態把握が重要である。日々の記録も重要だが、定期的な QOL 調査による目的的な患者情報蓄積が非常に有効である。また、医師主導の臨床患者レジストリの補完的な情報蓄積が重要である。個人情報により名寄せして利活用することが可能で、できるだけ多くの患者参加による信頼性の高い情報蓄積となる。

J-RAREが目指すもの

- ・ 希少・難治性疾患患者が患者登録し、日々の記録、通院の記録、病歴、アンケートによる患者情報蓄積
- ・ 希少・難治性疾患の臨床研究や治験に参加する患者や医療機関(医師)をつなげる

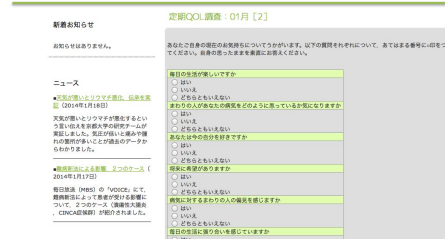
患者主導の定期的なQOL調査による患者実態把握
日々の記録も重要だが、定期的なQOL調査による目的
的な患者情報蓄積が非常に有効
医師主導の臨床患者レジストリの補完的な情報蓄積
個人情報により名寄せして利活用することが可能
できるだけ多くの患者参加による信頼性の高い情報蓄積

J-RARE.net

定期的な QOL 調査としては、下図のようにアンケートによる QOL 調査の機能が利用できる。J-RARE はさまざまな疾患の患者レジストリになっているため、厚生労働省の難病対策や難病研究班の QOL 調査のための疾患横断的なプラットフォームになりうる。

フィージビリティスタディが完了し、日

アンケートによるQOL調査



厚生労働省の難病対策や難病研究班のQOL調査のための疾患横断的なプラットフォームとして提供

J-RARE.net

本難病・疾病団体協議会の患者団体のうち、希望する患者団体の疾患を追加開始しており、今後、引き続き登録患者数を増やし、対象疾患を拡大し、疾患横断的なプラットフォームを目指す。

対象疾患

- DM 遠位型ミオパチー
- MFS マルファン症候群
- RP 再発性多発軟骨炎
- SRS シルバー・ラッセル症候群
- IS アイザックス症候群
- MD ミトコンドリア病

フィージビリティスタディが完了し、日本難病・疾病団体協議会の患者団体のうち、希望する患者団体の疾患を追加開始登録患者数を増やし、対象疾患を拡大し、疾患横断的なプラットフォームを目指す

J-RARE.net

D 考察

J-RAREは今後も引き続き、日々の記録・病歴・通院記録の蓄積とアンケートによるQOL調査を実施する。これにより、患者が蓄積した日々の記録、病歴、通院の記録、アンケートによる病態像の解明、厚生労働省の難病対策や難病研究班のQOL調査のための疾患横断的なプラットフォームとしての利活用が可能になると考えている。

製薬企業や大学研究機関による臨床試験や治験への利活用



製薬企業や大学研究機関は臨床試験や治験を必要な数の患者をリクルートして効率的に開始可能

J-RARE.net

また、製薬企業や大学研究機関による臨床試験や治験への利活用も目指す。製薬企業や大学研究機関は臨床試験や治験を必要な数の患者をリクルートして効率的に開始可能になることが期待される

E 結論および今後の展望

上記にまとめた事項について、実施してゆく。来年度はとくに下記のように患者実態調査・QOL調査を実施したいと考えている。運営の継続性、資金面についても検討する。

患者実態調査・QOL調査

- 遠位型ミオパチー QOL調査実施
倫理審査委員会承認後(2014/9/5)、QOL調査実施開始
(2014/9/13)
J-RARE登録後、調査票またはWebアンケートで回答
J-RARE代理登録の同意を得て、代理登録の実施
QOL調査終了後(2014/11/30)、匿名化し、回答情報の提供、解析
 - マルフアン症候群 QOL調査実施
 - 再発性多発軟骨炎 QOL調査実施
 - シルバー・ラッセル症候群 QOL調査実施
- QOL調査のガイドラインに基づき実施、調査間で比較
行政や企業への働きかけのための資料として利活用

 J-RARE.net

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

