

の個人的な情報は機密扱いとし、それは患者死亡後も続く。

4.2 機密情報は患者が明確な同意を示した場合または法律が明確に規定している場合にのみ公開される。その患者の治療に関与している他のケア提供者へ公開される場合、同意が推定される。

4.3 識別可能な全ての患者データは保護の対象となる。データの保護はその保管の方法に適合してなくてはならない。識別可能なデータを導き出すことが可能な人体物質も同様に保護の対象となる。

4.4 患者は本人の医療ファイルおよび専門的な記録、さらに診断、治療やケアに関連するその他全てのファイルや記録にアクセスする権利を持ち、自らのファイルや記録のコピーまたはその一部を受け取る権利を持つ。そのようなアクセスでは第三者を含むデータは除外する。

4.5 患者は個人情報および個人に関する、不正確、不十分、不明瞭、古い医療データ、または診断、治療およびケアの目的に関係しない医療データに対して、訂正、完成、削除、分析および/または更新を要求する権利がある。

4.6 患者の同意に加え、患者の診断、治療およびケアのために必要であると正当化されない限り、患者のプライバシーおよび家族生活への介入は認められない。

4.7 医療介入は個人のプライバシーの尊重が適切に行われた場合にのみ実施される。これは、患者が同意または他の方法を要求しない場合、医療介入に必要な人のみの立ち会いで所定の介入が実施される場合があることを意味する。

4.8 医療施設に入院した患者は、特にケア提供者による個人医療提供時や検査および治療を患者に実施する場合、プライバシーを保証する設備を求める権利がある。

以上のように、国際法の観点からは、プライバシーの権利に対して高いレベルで拘束力を持つ法律が存在しており、また健康関連データに関わるプライバシーの問題に対処するためにこれらの法律が広く利用されている。そうした法律の中で、患者個人の権利と社会全般の利益とのバランスに関して明確な指針を示しているのが欧州人権条約である。

その一方で、安全、効果的、アクセスしやすいヘルスケアの提供のために近年活用が進んでいる電子健康記録(EHRs)については、これまでのところ法的拘束力の有無に関わらず、国際法が存在していない。

WHO加盟国の法律枠組みがどの程度EHRsにおける患者のプライバシー保護についてのニーズに取り組んでいるかを調査したGlobal Observatory for eHealthによるEヘルスについての世界規模の調査によると、EHRsにおけるプライバシー保護についての法律が存在すると答えた国は回答した113カ国の約3割であった。また、国境を越えたEHRsの共有をカバーする法律があると答えた国は1割であり、治療や研究目的でEHRsを共有する際のプライバシー保護のためにEHRsに対して包括的な法的整備を行っている国はほとんどないことが明らかとなっている。

EUでは2011年に制定された国境を越えたヘルスケアにおける患者の権利(Patients' Right in Cross-Border Healthcare)により、欧州市民が普段の居住国に関わらず、EU加盟国において医療を受けることが可能となった。そのような国境を越えた医療の提供においては医療情報の共有が不可欠であり、国境を越えたヘルスケアにおける患者の権利は、自らの記録へアクセスする患者の利益について定めるとともに、加盟国間で医療関連データの共有を可能とするための共通の相互運用性基準を採用するよう、加盟国に求めている。

指令2011/24/EU、14b条では、Eヘルスネットワークは、公衆衛生および研究のために

医療情報の利用を可能とする効果的な方法についてガイドラインを策定する必要があることを述べており、2012年1月に欧州委員会により提案されたデータ保護規則の改正案が、現在、法案成立に向けて審議されている。この法案は2014年3月12日に欧州議会総会で採択されており、閣僚会議で採択されれば法案として成立する予定である。

#### D. 考察

##### 1. フランスの希少疾患患者についての登録データと我が国の特定疾患治療研究事業における登録データ項目の比較分析

フランスが国家施策として公衆衛生上の観点から収集する全ての希少疾患に対する共通質問項目は、難病の患者に対する医療等に関する法律施行前まで使用されていた臨床調査個人票の質問項目のうち全56疾患に共通する質問項目に比べ、質問内容が多岐に渡り、また回答選択肢も詳細であること、フランスの採用するFHIR/HL7と、本研究班が開発中の登録データシステムが採用するISO13606は相互互換のためのプログラムが開発されており、両国に共通する質問項目については相互利用が技術的に容易であることが明らかとなった。

今後、我が国が難病に関する国際連携を進めて行く上で、諸外国の質問項目と比較しつつ、難病の患者に対する医療等に関する法律に基づいて新たに指定される約300の指定難病に対する質問項目を策定していくことが有益であろう。特に、公衆衛生施策としての観点から希少・難治性疾患に関するデータの国際比較可能性を高めるためには、フランスのミニマム・データセットのように全ての疾患に共通する質問項目の策定のあり方が重要であると考えられた。

##### 2. 患者登録情報の相互利用に関する各国の法的整備状況

患者登録のデータを別の患者登録あるいは関係諸機関のデータとリンクさせることに対する関心が高まる一方で、プライバシー保護に配慮したデータ相互利用に関する法的整備は諸についたところであることが明らかとなった。国際的なレベルで法的拘束力がある法制度としては国連人権宣言、欧州人権条約、欧州データ保護指令が存在しているが、多くの国において、法の適用は未だ単純なプライバシー保護の範囲に止まっている。また、EHRsデータについては国際法が存在しておらず、国レベルでも適切な共有を促進する法律を取り入れた国はごく僅かであり、より広いHERの活用に向けた法整備を進めていくことが世界的に望まれている。

国連人権宣言、欧州人権条約、欧州データ保護指令のうち2つは欧州を対象にしたものであり、また、2012年より欧州議会において個人データ保護規則の改正が進められている。今後、我が国においても難病に関するデータの国際共同利用促進に向けた法的整備を進めて行く必要があると考えられるが、その際には欧州における動向に留意する必要がある。

#### E. 結論

今後、我が国が難病に関する国際連携を進めて行く上で、まずは、難病の患者に対する医療等に関する法律に基づいて新たに指定される約300の指定難病全てに共通する質問項目の見直しや、登録されたデータの国際共同利用促進に向けた法的整備を進めて行くことが必要であると考えられた。

#### 参考文献

1. WHO. 2012. Legal frameworks for eHealth, Global Observatory for eHealth, vol. 5.

2. Pristas I. and Doupi P. 2014. Serving patient registries. ISPOR 17<sup>th</sup> Annual Congress.

## F. 健康危険情報

なし

## G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

(1) Tomita N, Kanatani Y, Nakagawa Y. Prescribing pattern of drugs for ulcerative colitis in Japan. In: 17th Annual European Congress of International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes Research; 8-12 November 2014; Amsterdam, Netherland. Value in Health. 2014;17(7):A372.

(2) 富田奈穂子. 難病対策の日仏比較. 第73回日本公衆衛生学会総会; 2014年11月5-7日; 栃木. 日本公衆衛生雑誌. 2014; 61(10 特別付録):546.

(3) Tomita N, Kanatani Y. Impact of copayment reduction or exemption programme on generic drug utilisation: the specified disease treatment research programme in Japan. In: 6th Asia-Pacific Conference of International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes Research; 6-9 September 2014; Beijing, China. Value in Health. 2014;17(7):A810.

## H. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

表 1. フランスの希少疾患共通質問項目

質問分類	質問概念	質問項目	回答選択肢
1. 同意	患者の同意	コンピュータ内に情報を蓄積することについて、患者が同意しているか？	はい
	データの再利用に関する患者の同意	将来、他の研究目的のために非特定化された形で患者に関する情報が使用されることについて、患者が同意しているか？	はい
			いいえ
	後見人の同意	同意は患者の法定後見人によるものか？	はい いいえ
2. 患者の識別	国の希少疾患識別子	BaMaRa と BNDMR 間で患者の識別を可能にする GUID (グローバル一意識別子) (非特定化された形)	文字列 (自動生成)
	国の匿名識別子	フランスの Carte Vitale のデータを使用して生成された匿名の識別子	文字列 (自動生成)
	国の医療識別子	CNIL の判断に従った患者識別子: 将来的に DMP とのコネクションを可能とする固有の国の識別子	文字列 (自動生成)
	ローカル患者識別子	病院内の患者の識別子	文字列
3. 個人情報	患者の姓	患者の旧姓	文字列
	患者の結婚後の姓	患者の (結婚後の) 姓	文字列
	患者の名	出生証明書または身分証明書に明記されている患者のファーストネーム	文字列
	患者の生年月日	出生証明書に記録されている患者の生年月日	日付
	性別	患者の性別	女性
			男性
			決められない
			不明 (胎児の場合)
	胎児 (該当する場合)	胎児に関する記録であるか？	はい
			いいえ
	出生都市	患者の出生都市	都市コード
出生国	患者の出生国	国コード	
居住都市	患者の居住都市	都市コード	
居住国	患者の居住国	国コード	

4. 家族情報	(遺伝) 発端者	家族で最初にレファレンス・センター/コンピテンシー・センターに登録された患者か	はい いいえ
	発端者との関係	患者と発端者との関係の表記に使用	兄弟
			姉妹
			[…]
			母方の祖父
	母方の祖母		
関係者間の近親交配による誕生	患者は関係者間の近親交配の結果誕生したか	はい	
		いいえ	
		不明	
5. 生命状態	患者の生命状態	患者は現在も存命中か?	はい いいえ
	患者の死亡日時	患者が死亡した日時	日付
	希少疾患と死亡との関係	罹患している希少疾患が原因で死亡したか?	はい
			いいえ
不明			
死亡と希少疾患に関連性が無い場合、主な死因	罹患している希少疾患が死因ではない場合、主な死因	ICD10 コード	
6. ケアまでの経緯	患者の紹介状況	レファレンス・センターの受診に際して、患者は医療関係者の紹介を受けた可能性がある。 本項目では、医療関係者に対するレファレンス・センターの浸透度を評価	患者自ら受診
			患者会
			一般医
			小児科医 (診療所)
			小児科医 (病院)
			母子保健センター
			遺伝学者
			婦人科医 / 産科医
			他の専門医 (都市/病院)
			支援センター
			出生前診断のための学際的センター
			出生前スクリーニングのためのセンター
			その他
患者のセンターへの登録日	患者がレファレンス・センター/コンピテンシーセンターに登録された日付	日付	
主治医の名前	現在治療にあたっている主治医の	文字列	

		名前	
7. ケア活動	希少疾患のために実施した治療やケアの日付	申告された治療やケアが実施された日付	日付
	治療やケアの背景	実施した治療やケアを行った背景 (レファレンス・センターの年次活動報告書の作成に役立つ情報)	診察
			多領域による診察
			病院 (デイケア型)
			病院 (入院型)
			診察時のカルテに基づくアドバイス
			カルテに基づく専門家のアドバイス
			他の診療科によるアドバイス
			遠隔医療相談
	その他の状況		
	治療やケアの目的	申告された治療やケアの目的	診断
	治療やケアを行う職員の専門分野	申告された治療やケアを行った職員の種類	支援の開始
経過観察			
遺伝カウンセリング			
出生前診断			
着床前診断			
緊急時支援			
医療行為			
研究プロトコル			
ソーシャルワーカー			
食事療法士			
作業療法士			
理学療法士			
心理学者			
物理療法士			
遺伝カウンセラー			
看護師			
言語療法士			
特別養護教師			
医師			
その他の専門家			
治療やケアを行う職員	治療やケアを行う専門家の名前	文字列	
8. 病歴	発症年齢	最初に症状が発現した年齢は？	出生前
			出生時
			XX 歳 XX ヶ月
			不明
	初診時の診断の評	レファレンス・センター初診時に、	不明

	価	患者の診断は適切であったか？	適切ではない
			適切
	診断時年齢	診断時の年齢は？	出生前
			出生時
9. 診断			XX 歳 XX ヶ月
			不明
	診断の現況	現在の診断の状況は？	進行中
			ほぼ確定
			確定
	希少疾患の診断	レファレンス・センターで行った患者の診断	Orphanet コード
	希少疾患に関連した追加兆候または異常な兆候	希少疾患診断に関連した追加、または異常な兆候（希少疾患専門医による診断）	HPO コード
	突発性または家族性の症例	診察時において、突発性の症例か、あるいは家族性の症例か？（希少疾患専門医による評価）	特発性
			家族性
10. 診断の確定	診断の確定方法	確定診断に用いられた方法	臨床
			分子遺伝学
			細胞遺伝学
			生化学
			生物学)
			画像
			その他
	診断の根拠となる生物学的方法（該当する場合）	診断に用いた方法を明記	染色体
			アレイ CGH
			ターゲットシーケンス (Sanger)
		高スループットシーケンス (ターゲット、exome、ゲノム)	
		その他の方法	
	変異株（該当する場合）	関与している変異株は？	個人の遺伝子型を考慮した命名法 (Mutnomen : <a href="http://www.hgvs.org/mutnomen/">http://www.hgvs.org/mutnomen/</a> )
	浸透度（患者が一見健康に見える場合）	変異株を持つ対象者（情報収集の対象者）は病気であるか否か？	はい
			いいえ
			不明
11. 治療	現在、希少疾患のための特別な治療	希少疾患のための特別な治療は行われているか？	はい

	は行われているか？	注意：いわゆる「支持療法」は含まない。	いいえ
	継続中の希少疾患のための治療	継続中の、希少疾患のための特別な治療の名称。ここでは希少疾患についての治療のみを記載。	Orphanet コード / ATC コード
12. 出産前と新生児	生殖医療	生殖医療の医療支援が行われたか	はい いいえ
	出生前奇形の有無	患者は出生前奇形があった	いいえ - LOINC コード 単一 多発 - Mesh コード
	満期産（そうでない場合：期間を明記）	患者は満期産で誕生したか。そうでない場合には、期間を明記のこと。	はい いいえ
	出生時身長	患者の出生時の身長	数字
	出生時体重	患者の出生時の体重	数字
	出生時頭囲	患者の出生時の頭囲	数字
	胎児病理学	胎児病理学的な検査が行われたか	はい（剖検あり / 剖検なし） いいえ
	13. 研究	プロトコルに参加している患者	患者は現在研究プロトコル（コホート研究など）に参加しているか？
プロトコルに関連して連絡を受けることへの同意		研究プロトコルの実施に関連して、連絡をすることについて患者は許可したか？	はい いいえ
研究のために生体サンプルを既に提供している患者		患者は研究のために生体サンプルを既に提供しているか？	はい いいえ
分子診断のために生体サンプルを既に提供している患者		患者は分子診断のために生体サンプルを既に提供しているか？	はい いいえ
バイオバンクへのリンク		国家バイオバンクプラットフォームとの間で共有する情報の種類については協同作業中	
A. ユーザー	希少疾患担当医師の姓	当該施設における患者の担当医の姓	文字列
	希少疾患担当医師の名	当該施設における患者の担当医の名	文字列
	希少疾患担当医師の電子メール	当該施設の担当医のEメールアドレス	文字列



	希少疾患担当医師の電話番号	当該施設の担当医の電話番号	文字列
	希少疾患担当医師のファックス番号	当該施設の担当医のファックス番号	文字列
B. 医療施設	施設の名称	当該施設の名称	文字列
	施設の種類	当該施設の種類（レファレンス・センター / コンピテンス・センター）	レファレンス
			コンピテンス
	グループまたは希少疾患専門メンバーシップ	希少疾患グループメンバーシップ（部門）	リスト
	担当医の所属部署	当該施設の担当医の所属するケアユニットの名称	文字列
	施設の所在国	当該施設の所在国	国コード
	施設の所在都市	当該施設の所在都市	文字列
	施設の住所	当該施設の住所	文字列
	施設のデータベースへの登録年	当該施設のデータベースへの登録年	年

厚生労働科学研究費補助金  
(難治性疾患等克服研究事業(難治性疾患等政策研究事業  
(難治性疾患政策研究事業)))  
分担研究報告書

## 難病に関する情報提供のあり方の検討

研究分担者 宮坂 信之(東京医科歯科大学名誉教授)

### 研究要旨

本研究では、難病に関する情報提供のあり方を検討し、難病情報を患者及びその家族、さらには一般利用者及び医療関係者に正確に、タイムリーに、かつわかりやすく提供をすることを目指している。特に、「難病の患者に対する医療等に関する法律案」が昨年5月に成立し、本年1月から施行されたため、具体的には、1) 疾患情報(症状、診断基準、治療指針等)、研究情報(臨床試験、治験等に関する情報)について、患者や国民にわかりやすい情報提供の方策(内容、様式、媒体等)を検討する、2) これらの情報を難病班から効率的に収集するための方策を検討する、3) 難病研究班と難病患者との双方向のコミュニケーション体制のあり方の検討を行う。これら3点について、難病医学研究財団難病情報センターを活用し、インターネット上でホームページから安全、正確かつ迅速な難病情報の提供を行う

### A. 研究目的

本研究では、難病に関する情報提供のあり方を検討し、難病情報を患者及びその家族、さらには一般利用者及び医療関係者に正確に、タイムリーに、かつわかりやすく提供をすることを目指している。特に、「難病の患者に対する医療等に関する法律案」が昨年5月に成立し、本年1月から施行されたため、指定難病に関する情報提供を迅速かつ正確に、そしてわかりやすく行う。

### B. 研究方法

1) 疾患情報(症状、診断基準、治療指針等)、研究情報(臨床試験、治験等に関する情報)について、患者や国民にわかりやすい情報提供の方策(内容、様式、媒体等)を検討する、2) これらの情報を難病班から効率的に収集するための方策を検討する、3) 難病研究班と難病患者との双方向のコミュニケーション体制のあり方の検討を行

う。これら3点について、難病医学研究財団難病情報センター(研究分担者の宮坂信之が運営委員長を務める)を活用し、安全、正確かつ迅速な難病情報の提供を行う。

(倫理面への配慮)

本研究の実施にあたっては、厚生労働省・文部科学省の「疫学研究の倫理指針」に従い、国立保健医療科学院研究倫理審査委員会において審査を行う。また、個人情報保護について万全の注意を払う。

### C. 研究結果

1) これまでの疾患情報の提供についてこれまで難病情報に関しては、難病医学研究財団難病情報センターのホームページ(<http://www.nanbyou.or.jp/>)において、難治性疾患克服研究事業 臨床調査研究分野の対象疾患130について、「病気の解説」を一般利用者向け及び医療従事者向けに提供してきた。具体的には、難病情報センタ

一より、臨床調査研究分野の主任研究者が任命した情報企画委員に対して、疾患概念・定義、疫学、病因、臨床症状、検査成績、診断・鑑別診断、治療、予後の項目別に一般利用者及び医療従事者向けに「病気の解説」の記載を依頼し、これを逐次ホームページに掲載をしてきた。また、臨床医学の進歩に対応した内容のアップデートも情報企画委員によって定期的に行われてきた。さらに、一般利用者の理解を深めるために、難解な語について用語集（難病ウィキペディア）を医学専門家の協力の下に作成し、きめの細かい対応をしてきた。このほかに、同ホームページ上に、国の難病対策の概要、難病支援関連制度の一覧、難治性疾患研究班概要、患者会概要などのアイコンがあり、これをクリックするとその内容を参照することができる。

本年1月からは新たに110の指定難病が決まり、ホームページ上からも各疾患の概要をみることができるようになりつつある。本年7月末までには指定難病は約300にまで増加する予定であるが、これに合わせてタイムリーに疾患解説をアップロードすることを計画している。

本年度のホームページへのアクセス件数は、月平均250万件を超えており、このサイトの人気をうかがい知ることができる。また、アクセス方法も、従来はデスクトップ型パソコンからが主体であったが、平成26年度からモバイルでのアクセスが増え、とうとうモバイルからのアクセスが50%を超えた。

このほか、各都道府県に設置されている難病相談・支援センター間のネットワーク支援事業が行われており、各センター間の情報交換が円滑に行われることを目指している。

## D. 考察

難病情報センターのホームページを利用することで、一般利用者及び医療従事者に対して新たな難病対策の概要、指定難病の疾患解説、難治性疾患研究班活動などをわかりやすく提供することが可能となった。これにより、効果的かつ効率的な難病対策の推進、難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策の確立、患者及び家族のQOLの向上などに貢献することが期待される。

## E. 結論

難病医学研究財団難病情報センターを活用し、一般利用者及び医療従事者に対してインターネット上でホームページから安全、正確かつ迅速な難病情報の提供を行うことが可能となった。

## F. 健康危険情報

なし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

なし

### 2. 学会発表

なし

## H. 知的財産権の出願・登録状況

### 1. 特許取得

なし

### 2. 実用新案登録

なし

厚生労働科学研究費補助金  
(難治性疾患等克服研究事業 (難治性疾患等政策研究事業  
(難治性疾患政策研究事業) ) )  
分担研究報告書

希少・難治性疾患研究の研究評価・進捗管理の方策に関する検討

研究分担者 葛原 茂樹 (鈴鹿医療科学大学看護学部看護学科 教授)

研究要旨

目的：難治性疾患政策研究事業の目標（難病の診断基準・重症度分類・診療ガイドラインの策定・改訂、及び学会での承認）を達成するために必要な研究評価と進捗管理の具体的な方策を開発・実施・評価し、「研究開発管理」を効果的に推進する仕組み（PDCAサイクル）を検討する。

方法：平成 26 年度難治性疾患政策研究事業の全 89 研究課題を対象として、進捗状況申告書、研究成果申告書を提出してもらい、進捗状況の把握・管理、研究成果のとりまとめを実施した。申告書の記載事項は、対象疾患、各疾患に設定した目標及び達成期限、年度の間時点（平成 26 年 9 月末）での進捗状況、評価時点（平成 26 年 12 月末）での各目標の達成状況であった。記載事項を集計し、研究事業全体の目標の設定・達成の状況を分析した。

結果：対象疾患 413 疾患のうち、診断基準の策定・改訂を目標としている疾患の割合は 56%（231 疾患）、重症度分類の策定・改訂は 47%（195 疾患）、診療ガイドラインの策定・改訂は 63%（261 疾患）であった。また学会での承認を目標としている疾患の割合は、診断基準で 45%（187 疾患）、重症度分類で 32%（133 疾患）、診療ガイドラインで 45%（187 疾患）であった。平成 26 年度内を達成期限とした疾患のうち、99%（78/79）が診断基準の策定・改訂を、93%（86/93）が重症度分類の策定・改訂を、82%（28/34）が診療ガイドラインの策定・改訂を、それぞれ年度内に達成していた（年度末の達成見込みを含む）。また、診断基準、重症度分類の策定・改訂の達成期限が平成 27 年度以降に設定された疾患（それぞれ 130 と 98）のうち、約 10%は平成 26 年度内に目標を達成していた。

結論：難治性疾患政策研究事業においても、研究開始時点での研究開発の目標と達成期限の明確な設定、研究年度の間時点での進捗状況の把握、研究年度の終了時点での目標の達成状況の把握など、適切な研究開発管理を実施することによって、事業全体の目標を確実にかつ迅速に達成できることが示唆された。

A. 研究目的

難病対策を推進する上で調査研究は不可欠であり、関連する研究開発を積極的に推進し、対策に直接貢献する研究成果を産出し、研究

成果の普及・活用を促進する必要がある。難病研究を効果的かつ効率的に推進するためには、設定された研究課題に対して研究遂行能力の高い研究者が適切に評価される「研究評

価)、研究者が研究課題を円滑に遂行し、最大の研究成果を得られるようにするための「進捗管理」を実施し、適正な「研究開発管理」を行う必要がある。

厚生労働省における難病研究は、これまで「難治性疾患克服研究事業」において、基礎研究、臨床研究、開発研究、政策研究などを総合的に実施してきたが、平成26年度より「難治性疾患政策研究事業」と「難治性疾患実用化研究事業」に分割して推進されることとなった。さらに「難治性疾患実用化研究事業」は、平成27年度より日本医療研究開発機構(Japanese Agency for Medical Research and Development: AMED)において医療分野の研究開発として一元管理され、基礎から実用化まで一貫した研究開発管理が実施されることとなった。

一方「難治性疾患政策研究事業」に関しては、これまでどおり厚生労働省が所管するが、研究事業の目標として「難病の診断基準・重症度分類・診療ガイドラインの策定・改訂及び学会での承認」が明示され、各研究課題は目標達成に向けて組織的、計画的に推進されることとなった。しかし政策研究においては、実用化研究における「創薬パイプライン」のような研究開発管理の枠組みが構築されておらず、具体的な研究評価・進捗管理の方策も確立していないのが現状である。

そこで本研究は、難治性疾患政策研究事業の目標を達成するために必要な研究評価と進捗管理の具体的な方策を開発・実施・評価し、「研究開発管理」を効果的に推進する仕組み(PDCAサイクル)を検討することを目的とした。

## B. 研究方法

平成26年度難治性疾患政策研究事業の研究課題全89課題を対象として、以下の研究開発管理を実施した。

### ①進捗状況の把握・管理

平成26年9月、各研究課題の研究代表者に「進捗状況申告書」(別紙1)の作成・提出を依頼し、進捗状況を把握した。

進捗状況申告書の記載事項は、対象疾患、各疾患に設定した目標(診断基準の策定・改訂、診断基準の学会での承認、重症度分類の策定・改訂、重症度分類の学会での承認、診療ガイドラインの策定・改訂、診療ガイドラインの学会での承認等)及びその達成期限、年度の間時点(平成26年9月末)での進捗状況(研究活動の実施状況(研究班会議の開催等)、今後の研究計画(修正点等)、目標達成の見込み等)、進捗上の問題点(研究を遂行する上で困っている点等)であった。

### ②研究成果のとりまとめ

平成26年12月、各研究課題の研究代表者に「研究成果申告書」(別紙2)の作成・提出を依頼し、研究成果のとりまとめを行った。

研究成果申告書の記載事項は、「進捗状況申告書」との共通事項(対象疾患、各疾患に設定した目標及び達成期限)、評価時点(平成26年12月末)での各目標の達成状況(達成済み[達成年月]、達成見込み[達成見込み年月]、未達成)であった。

### ③研究事業全体の進捗状況の分析

進捗状況申告書、研究成果申告書の記載事項を集計し、研究事業全体の目標の設定・達成の状況を分析した。

(倫理面への配慮)

本研究は、難治性疾患政策研究事業の研究課題を対象とした調査であり、ヒトへの侵襲性はなく、また個人情報扱わなかったことから、倫理的問題はないと考えられる。

## C. 研究結果

平成 26 年度難治性疾患政策研究事業の全 89 研究課題が対象とした疾患数は 413 疾患であった。

表 1 に、研究開始時の目標設定の状況を示した。診断基準の策定・改訂を目標としている疾患の割合は 56% (231 疾患)、重症度分類の策定・改訂は 47% (195 疾患)、診療ガイドラインの策定・改訂は 63% (261 疾患) であった。また学会での承認を目標としている疾患の割合は、診断基準で 45% (187 疾患)、重症度分類で 32% (133 疾患)、診療ガイドラインで 45% (187 疾患) であった。

一方、策定・改訂の目標が設定されていない疾患もみられた。診断基準に関しては、すでに策定・改訂されている疾患の割合が大きかったが、これは策定・改訂してからの期間がまだ短い等の理由で目標として設定されなかったためと考えられる。また重症度分類、診療ガイドラインに関しては、未策定（不明を含む）の割合が大きかったが、これは研究期間内に診断基準までは到達できるが、重症度分類、診療ガイドラインまでは達成できないと判断されたためと考えられる。

学会での承認に関しては、未承認（不明を含む）であるが目標として設定されていない疾患が半数近くを占めていた。これは、理事会等のスケジュールなど、学会の運営状況の影響を受けるため、目標を明確に設定することが困難であるためと考えられる。

表 2-1～表 2-3 に、目標設定されている疾患について、その達成期限の状況を示した。診断基準に関しては、平成 26 年度、27 年度、28 年度をそれぞれ達成期限とする疾患が約 3 分の 1 ずつであった。重症度分類に関しては、約半数の疾患が平成 26 年度を策定・改訂の達成期限、平成 27 年度を学会での承認の達成期限としていた。これは、指定難病の選定にあたって重症度分類が必要となることから、優先して研究が進められているためと考えられる。診療ガイドラインに関しては、

261 疾患のうち平成 27 年度までに約 4 割

(111)、平成 28 年度までに約 8 割 (210) の疾患が達成する見込みであった。

表 3-1～表 3-3 に、達成期限が設定されている疾患について、達成期限別にみた平成 26 年度内に目標が達成された疾患の数と割合を示した。平成 26 年度内を達成期限とした疾患のうち、99% (78/79) が診断基準の策定・改訂を、93% (86/93) が重症度分類の策定・改訂を、82% (28/34) が診療ガイドラインの策定・改訂を、それぞれ年度内に達成していた（年度末の達成見込みを含む）。また診断基準、重症度分類の策定・改訂の達成期限が平成 27 年度以降に設定された疾患（それぞれ 130 と 98）のうち、約 10% は平成 26 年度内に目標を達成していた。

一方、学会での承認に関しては、平成 26 年度内を達成期限とした疾患で年度内に達成できた割合は、診断基準で約 7 割、重症度分類、診療ガイドラインでは半数程度であった。これは、上述したとおり、理事会等のスケジュールなど、学会の運営状況の影響を受けた可能性があると考えられる。

#### D. 考察

本研究の結果、各研究課題が自ら目標（診断基準・重症度分類・診療ガイドラインの策定・改訂）と達成期限（平成〇〇年××月までに）を明確に設定し、それに向かって計画的に調査研究を遂行することによって、期限内の目標達成が可能であることが示された。また一部の疾患においては、設定された期限を「前倒し」して目標達成されていたことから、期限設定によって「前倒し」達成することも可能であることが示された。このことから、難治性疾患政策研究事業においても、研究開始時点での研究開発の目標と達成期限の明確な設定、研究年度の間時点での進捗状況の把握、研究年度の終了時点での目標の達成状況の把握など、適切な研究開発管理を実

施することによって、事業全体の目標を確実にかつ迅速に達成できることが示唆された。

難治性疾患実用化研究事業においては、以前から研究開発管理の手法・ツールの開発が進められている。具体的には、研究開発の進捗状況を随時入力でき、進捗管理や研究評価の際に随時出力できる「情報管理システム」、「サイトビジット」のマニュアルなどである。今後は難治性疾患政策研究事業においても、これらのツールの活用を検討する必要がある。

## E. 結論

難治性疾患政策研究事業の目標（難病の診断基準・重症度分類・診療ガイドラインの策定・改訂及び学会での承認）を達成するために必要な研究評価と進捗管理の具体的な方策を開発・実施・評価し、「研究開発管理」を効果的に推進する仕組み（PDCA サイクル）を検討することを目的として、平成 26 年度難治性疾患政策研究事業の研究課題全 89 課題を対象に、進捗状況の把握・管理、研究成果のとりまとめを実施した。その結果、各研究課題が自ら目標と達成期限を明確に設定し、それに向かって計画的に調査研究を遂行することによって、期限内の目標達成が可能であることが示された。また一部の疾患ではあるが、設定された期限を「前倒し」して目標達成しており、明確に期限設定することによって前倒し達成も可能であることが示された。

F. 健康危険情報 なし

G. 研究発表 なし

H. 知的財産権の出願・登録状況 なし

## 進捗状況申告書

<b>難治性疾患政策研究事業</b>	
(研究課題名) ○○○○に関する研究 (H○○-○○-○○-○○○)	
(研究代表者名) ○○ ○○ (△△△△ (所属研究機関) ×××× (職名))	
(研究期間) 平成××年度 ~ 平成××年度	
<b>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)</b> □□□□を目的として、□□□□を実施する。その結果、□□□□の成果が期待される。	
<b>対象疾患リスト</b> (1) ○○病 (2) △△症 (平成××年度から) (3) ... ※交付申請書に記載された疾患名を全て列挙して下さい。 ※対象疾患を追加した場合は、それがわかるように記載して下さい。	
<b>目標・成果物</b>	(1) ○○病の重症度分類を策定する (平成○○年○○月までに)。 (2) △△症の診療ガイドラインについて□□学会の承認を得る (平成○○年○○月までに)。 (3) ... ※(1)…の通し番号は「対象疾患リスト」と同じとして下さい。 ※各対象疾患について、以下のいずれか、またはそれに相当する内容を目標として下さい。 ・ 診断基準の策定・改訂 ・ 診断基準の学会での承認 (学会名を明記) ・ 重症度分類の策定・改訂 ・ 重症度分類の学会での承認 (学会名を明記) ・ 診療ガイドラインの策定・改訂 ・ 診療ガイドラインの学会での承認 (学会名を明記)
<b>進捗状況 (1 年目 中間点)</b>	※以下の事項について、簡潔に箇条書きして下さい。 ・ 研究活動の実施状況 (研究班会議の開催等) ・ 今後の研究計画 (修正点等) ・ 目標達成の見込み
	<b>進捗上の問題点 (ある場合に記入)</b>
<b>進捗状況 (2 年目 中間点)</b>	
	<b>進捗上の問題点 (ある場合に記入)</b>
<b>進捗状況 (3 年目 中間点)</b>	
	<b>進捗上の問題点 (ある場合に記入)</b>



## (作成上の留意事項)

### 1. 申告書の基本的な考え方について

- ・本申告書は、研究成果の達成度、研究開発のプロセス等の状況を、研究期間を通じて記録していくためのものですので、研究期間が終了するまで適切に保存・管理して下さい。
- ・進捗状況は、各年度の間時点（9月末）に、追記・提出していただきます。研究期間の途中で様々な変更が発生する可能性があります。その場合は、それがわかるように加筆・修正して下さい（提出していただく各時点で、変更点等について確認させていただきます）。

### 2. 申告書の記載事項について

- ①「研究課題名（研究課題番号）」、「研究代表者名」、「研究期間」は、交付申請書のとおりに記載して下さい。
- ②「研究課題の概要」は、目的、方法、期待される成果等について、交付申請書の「7. 研究の概要」を200字程度に要約して記載して下さい。
- ③「対象疾患リスト」は、交付申請書に記載された疾患名を全て列挙し、各疾患に通し番号（(1)、(2)、(3)…）を付して下さい。また対象疾患を追加した場合は、それがわかるように記載して下さい（「平成××年度から」など）。
- ④「目標・成果物」
  - ・各対象疾患について、目標と達成期限（平成〇〇年〇〇月までに）を記載して下さい。
  - ・各目標には、「対象疾患リスト」と同じ通し番号（(1)、(2)、(3)…）を付して下さい。なお、1つの対象疾患に複数の目標を設定している場合は、それがわかるように記載して下さい（(1)-1.、(1)-2.、(1)-3.、…など）。
  - ・「目標」については、以下のいずれか、またはそれに相当するものを記載して下さい。
    - －診断基準の策定・改訂
    - －診断基準の学会での承認（学会名を明記）
    - －重症度分類の策定・改訂
    - －重症度分類の学会での承認（学会名を明記）
    - －診療ガイドラインの策定・改訂
    - －診療ガイドラインの学会での承認（学会名を明記）
- ⑤「研究課題名（研究課題番号）」から「目標・成果物」までは、別紙2「研究成果申告書」と完全に同一の記述として下さい（加筆・修正した部分も含めて）。どちらかに記入、加筆、修正等を行った時点で、もう一方にコピー・アンド・ペーストして下さい。
- ⑥進捗状況（1年目中間点）
  - ・平成26年9月末時点での進捗状況を、簡潔に箇条書きして下さい。記載内容は、研究活動の実施状況（研究班会議の開催等）、今後の研究計画（修正点等）、目標達成の見込み、などとして下さい。
  - ・「進捗上の問題点」については、研究を遂行する上で困っている点、厚生労働省及び国立保健医療科学院（FA）への要望など、具体的に記載して下さい。なお、ここで記載された内容は研究評価には使用しない（評価委員には報告しない）ので、遠慮なく記載して下さい。
- ⑦次年度以降
  - ・「進捗状況(2年目中間点)」、「進捗状況(3年目中間点)」については、⑥と同様に記載して下さい。

## 研究成果申告書

<b>難治性疾患政策研究事業</b>	
(研究課題名) ○○○○に関する研究 (H○○-○○-○○-○○○)	
(研究代表者名) ○○ ○○ (△△△△ (所属研究機関) ×××× (職名))	
(研究期間) 平成××年度 ~ 平成××年度	
<b>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)</b> □□□□を目的として、□□□□を実施する。その結果、□□□□の成果が期待される。	
<b>対象疾患リスト</b> (1)○○病 (2)△△症 (平成××年度から) (3) ... ※交付申請書に記載された疾患名を全て列挙して下さい。 ※対象疾患を追加した場合は、それがわかるように記載して下さい。	
<b>目標・成果物</b>	(1)○○病の重症度分類を策定する (平成○○年○○月までに)。 (2)△△症の診療ガイドラインについて□□学会の承認を得る (平成○○年○○月までに)。 (3) ... ※(1)…の通し番号は「対象疾患リスト」と同じとして下さい。 ※各対象疾患について、以下のいずれか、またはそれに相当する内容を目標として下さい。 ・診断基準の策定・改訂 ・診断基準の学会での承認 (学会名を明記) ・重症度分類の策定・改訂 ・重症度分類の学会での承認 (学会名を明記) ・診療ガイドラインの策定・改訂 ・診療ガイドラインの学会での承認 (学会名を明記)
<b>目標・成果物の達成状況 (1年目評価時点)</b>	(1)達成済み (○○年○○月) ・ 達成見込み (○○年○○月) ・ 未達成 (2)達成済み (○○年○○月) ・ 達成見込み (○○年○○月) ・ 未達成 (3)達成済み (○○年○○月) ・ 達成見込み (○○年○○月) ・ 未達成 ... ※(1)…の通し番号は「対象疾患リスト」と同じとして下さい。 ※いずれかを選択して下さい。

<p>目標・ 成果物の 達成状況 (2年目 評価 時点)</p>	
<p>目標・ 成果物の 達成状況 (3年目 評価 時点)</p>	

<次ページ以降に、成果物を証明する文書（のコピー）等を添付して下さい>

**（作成上の留意事項）**

**1. 申告書の基本的な考え方について**

- ・本申告書は、研究成果の達成度、研究開発のプロセス等の状況を、研究期間を通じて記録していくためのものですので、研究期間が終了するまで適切に保存・管理して下さい。
- ・目標・成果物の達成状況は、各年度の評価時点（12月末）に、追記・提出していただきます。研究期間の途中で様々な変更が発生する可能性があります。その場合は、それがわかるように加筆・修正して下さい（提出していただく各時点で、変更点等について確認させていただきます）。

**2. 申告書の記載事項について**

- ①「研究課題名（研究課題番号）」、「研究代表者名」、「研究期間」は、交付申請書のとおりに記載して下さい。
- ②「研究課題の概要」は、目的、方法、期待される成果等について、交付申請書の「7. 研究の概要」を200字程度に要約して記載して下さい。
- ③「対象疾患リスト」は、交付申請書に記載された疾患名を全て列挙し、各疾患に通し番号（(1)、(2)、(3)…）を付して下さい。また対象疾患を追加した場合は、それがわかるように記載して下さい（「平成××年度から」など）。
- ④「目標・成果物」
  - ・各対象疾患について、目標と達成期限（平成〇〇年〇〇月までに）を記載して下さい。

- ・各目標には、「対象疾患リスト」と同じ通し番号（(1)、(2)、(3)…）を付して下さい。  
なお、1つの対象疾患に複数の目標を設定している場合は、それがわかるように記載して下さい（(1)-1.、(1)-2.、(1)-3.、…など）。
- ・「目標」については、以下のいずれか、またはそれに相当するものを記載して下さい。
  - －診断基準の策定・改訂
  - －診断基準の学会での承認（学会名を明記）
  - －重症度分類の策定・改訂
  - －重症度分類の学会での承認（学会名を明記）
  - －診療ガイドラインの策定・改訂
  - －診療ガイドラインの学会での承認（学会名を明記）

⑤「研究課題名（研究課題番号）」から「目標・成果物」までは、別紙1「進捗状況申告書」と完全に同一の記述として下さい（加筆・修正した部分も含めて）。どちらかに記入、加筆、修正等を行った時点で、もう一方にコピー・アンド・ペーストして下さい。

⑥目標・成果物の達成状況(1年目評価時点)

- ・「目標・成果物」のそれぞれについて、平成26年12月末時点での達成状況を、同じ通し番号（(1)-1、(1)-2、(1)-3、(2)、(3)…）を付して記載して下さい。
- ・達成状況は、以下の項目から選択して記載して下さい。
  - －達成済み（〇〇年〇〇月）
  - －達成見込み（〇〇年〇〇月）
  - －未達成
- ・本申告書の次ページ以降に、成果物を証明する文書（のコピー）等を添付して下さい。具体的には、診断基準、重症度分類、診療ガイドライン、その他関連する論文等を添付して下さい。なお、分量が多い場合は、必要な部分を抜粋して添付して下さい。

⑦次年度以降

- ・「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)」については、⑥と同様に記載して下さい。