

具体的に、病人を抱えた家族と話すのが良い。例えば、癌であれ、治療法改良で、寿命が延びているのも事実だ。何らかの手術で、正常な生活ができていてる患者も多い。過去に比べ、精神病を含め、様々な病気を治療することが可能になっている。今までより、改善された事例は多々ある。

特に、精神疾患分野では、精神疾患の困難度を削減したことが指摘できる。今現在、普通に生活をしている多くの人は、昔だったら、今ほど普通には過ごせなかった。

納税者並びに議員を説得するためには、一人の患者ごとに説得する必要がある。我々の研究成果、それに伴う治療法の向上で、人々の生活がより良好になったことを説明できる。

新しい治療法が開発されると、初期段階では、その新しい治療法は高額である。でも、割と短期間で、その治療費は下がる。医療費そのものが下がるばかりではなく、治療法も益々改善される。多くの人は気づいていないが、常に、治療法の改善がなされるのだ。

持病を抱えた患者は、気づかない場合もあるが、年ごとに治療法は改善されるのだ。例えば、高齢者の問題を取り上げて見よう。

高齢者に対する支援制度が常に改善されている。医療機器の種類も増えた。例えば、車椅子、その他、介護用機械道具類の種類も増え、昔に比べ、現在の高齢者は快適に過ごせる機会が増えた。医療機器の開発に関わっているのは、多くの場合、中小企業だ。

科学的データに頼るだけではなく、人々の具体的な事例が説得力を有している。NIHのウェブサイトの一つはNIH Mattersだ。NIHが資金を提供した科学研究者の結果、具体的な事例として、ある患者に焦点を当てて説明する。良い研究成果が出ると、患者の具体的な話を入れるのだ。

もう一つ、NIHにとっての挑戦は、NIHは他州にまたがって、多くの大学に助成金を授与している。大きな研究成果が出ると、大学側は記者団に公表する。ただ、場合によっては、その公表内容の中に、研究の助成金が何処から出たかを含めない場合もある。

NIHの広報部が、大学側に手を差し伸べ、記者団に公表する場面が生じた場合で、資金源がNIHである時は、その事実も公表するよう説得している。住民が税金の良好な使い方であると納得する良い機会なのだ。

また、全て主な大学研究機関の周りには、関連企業が集まっている。知識ばかりではない、大学から生まれたアイデアに企業が吸い寄せられるのだ。科学の学界は政府の研究助成金ばかりではなく、人材を生み出し、アイデアも生み出す。

研究助成金付与並びに、科学研究者の訓練教育が、地域の活性化に多大な貢献をしている。優秀な大学であればあるほど、大学周辺への企業誘致が活発になり、経済活動が盛んになる。製造力、知識能力の向上等が大学から生成されるのだ。

州議会や市議会の議員達に、NIHの研究助成金を地元の大学が受けとることで、地元経済の進展にも貢献していることを説明する。

引用件数を評価指標として用いることは、余り好まない。適当に操作しやすい分野だからだ。引用の場合、人名を付け出す事が簡単にできる。また、科学者同士、お互いに引用し合おうと合意する場合もある。

本当の科学成果である、知識向上という本来の科学者の目的からずれてしまう。西洋の論文、西洋の引用が主流であるため、中国の科学研究者達が遅れを取ってしまう原因にもなっている。

米国内で、最良の科学が行われている地域を見てみると、その地域で、評価委員は引用に重点を置いていない。他の科学者が評価して、科学成果の質の高さや科学の内容に注目する。例えば、MIT(マサチューセッツ工科大)、ハーワードヒューズ医学校等は、評価委員が引用に重点を置いていない。論文そのものを熟読して、内容の良し悪しで選抜する。

患者の生活の質に関しては、算出方法等賛否両論で、議論が白熱する分野だ。この分野は、今現在、我々が調査研究中で、今年末までには方法論等が取りまとめられると思う。米国市民の健康度と医療関連出費との繋がりを調査検討中なのだ。難しい作業ではあるが、関係者間の意見調整のための努力中なのだ。

治療法によっては、関連が見えやすいが、科学研究論文等は、市民の健康度にどの位貢献しているかは算出し難い分野だ。NIHでは、証拠をもとにした評価に重きを置いている。来年から、色々な医療関連サービスの評価方法を、出費に対して国民の健康度に如何に貢献したかという尺度をより取り入れることになっている。勿論、様々な意見があり、方法論に関しても意見が分かれているが、徐々に意見調整の方向に向かっている。

米国では、質の高さに関して、他の問題もある。法律に基づき、コリーという民間の調査研究機関が作られた。費用対医療の質の比較は難しい。立法措置が取られ、実際、出費に対する品質の高さを比較することが禁止されている。

医療費の情報を集めることはできる。また、治療の結果も情報収集できる。でも、この二つを直接比較検討できない仕組みになっている。

全米に渡る大々的なアンケート調査が実施された。多種類の質問を含むNIHのアンケート調査で、長期的角度からの質問も含まれていた。

その結果も踏まえ、寿命テーブル分析等も行い、今現在まとめる努力中だ。

最重要項目は、人々の生活の質が向上する観点から見る見方。治療法の改善、特許出願、取得率等も考慮する。両方共役に立つ。でも、NIHにおける感情的コミットは数字に関係ない。常に、治療、予防といった、直接的な個々の人々の経験に重きを置いている。

例えば、エボラ恐怖の事例をあげよう。他国のエボラ患者を、NIHの病院内で隔離治療を行い、完治後、安全に社会復帰を実現する。米国では、エボラの心配をする必要はないと説明する。このような事例は説得力が強い。このような状況こそ、何十億ドルの価値があるのだ。

感染症に関して知識を習得すればするほど、米国市民に何を心配する必要があるか、何は心配の必要がないかを説明できる。また、国としてどんな対策を立てているかも説明し易い。

例えば、ジカ熱。誰もジカ熱に注目していなかった。製薬会社が試みようとしなかった薬に関して、NIHが引き受け、この新しい治療法確認のため、臨床試験が実施された。

国が何かを懸念している場合、きちんとした回答を準備することは大切に役立つ。このような時、数字が重要なのではなく、医療現場の現状に関して、実際の患者の事例を挙げるのが効果的なのだ。政治的に、そのことが特に重要だ。専門家が自信を持って国民に説明することが重要なのだ。

NIHのホームページではNIHによる研究のImpactが掲載されている。

Donabedian's Modelでは、Structure、Process、Outcomeという評価指標が使われている。

一方で、WHOなどでは、Outcomeに加えて、その波及効果をImpactとしている。

NIHでは、OutcomeとImpactと使い分けているか。

OutcomeとImpactは同じ意味として交換できる言葉で、両方が使われている。助成金申請の測定関連には、Impactという言葉を採用している。半分政治的理由もあり、科学的利点と言う言い回しの代わりに、Impactを採択すべきだという考え方をする科学研究者達もいる。

Impactに比べ、Outcomeはより受動的言い回しある。私は個人的に両者の違いを余りにせず、両者を同等の意味に使っている。

Part 4. AHRQ Robert Kaplan 氏との質疑

質に関しては、4つの分野がある。Quality, Safety, Efficiency, Effectiveness(質、安全性、効率、効果)である。また、医療分野では、Equity(平等性)も重要だ。公衆衛生に力を注いでいる。

我らの主な集中点は医療サービスの分野だ。

科学研究に資金提供を行っている。また、ガイドライン作成にもたずさわっている。我々は、NIH 同様である。主に大学機関に対する研究グラントもある。大学以外の機関に出す場合もある。資金の大半は助成金に回す。

我々は3つの分野に特に力を入れている。医薬品をどのように作るかに関する確かな証拠、安全性の確認、医療分野の質の向上、経済性、サービスの受け易さなど。その為に、多大な組織的分析、いわゆるメタ分析等を行っている。

米国予防医学作業部会(タスクフォース)があり、予防医学サービスの価値に関するガイドラインを作成、予防医学の重要性を説明する。例えば、癌予防の為に検診等だ。

ここ数年の間に、米国内で大変化があった。医療保険のなかった市民のために、安価に医療を受ける権利に関する法律も制定されたため、予防医学的検診に対しても、保険適用になった。(Affordable Care Act --Obama Care)。

作業部会の推薦内容によっては議論を醸し出している分野も多い。例えば、最近医療サービスに対して、A、B、C、D、Iといった格付けがなされている。Iは Incomplete(不完全な証拠)の頭文字だ。不十分な証拠しかないとことだ。

具体例を挙げると、女性のマンモグラフィの必要性についてである。マンモグラフィの必要性は、年代層を50歳以下から74歳以下に変わった。ということは、医療保険会社が50歳から74歳のマンモグラフィ検査にも保険適用しなければならぬということだ。

心臓血管病の管理の方策として、多種多様な予防医学が推奨されている。ごく最近も、躁鬱病患者に対しても、証拠をもとにした治療法が採択されている。

主に取り組んでいる分野は、上記のような手法であるが、二番目のやり方は、医療従事者に役立つ証拠をもとに、実際の医療に役立てるための判断道具を作成することだ。電子的道具もあるし、情報科学も多く利用している。要は、科学的根拠に基づいた医療を行うことを推奨しているのだ。

医療従事に役立つ道具、手法の開発に力を注いでいる。医師が、科学的証拠、根拠に基づいて診断するのを補助する道具類を揃えるのだ。

第三点目は、データを利用可能にしておくことも重要だ。大きなデータベースを保持している。科学研究者用のデータベースも重要であるが、医療政策策定者用、医学従事者用のデータベースも重要だ。科学を医療従事者が使いやすいデータベースに転換する事も大切だ。

我々の組織はこじんまりしていて、総数350人だ。

作業部会を作る場合は、委員は外部の専門家を招集する。作業部会の事務職員は我々が提供する。我々は数多くの分析をする。作業部会の委員は、普段大学機関で勤務、委員に指名されるのだ。

道具開発に関しては、助成金を出して専門家に作成してもらうか、専門家或いは企業と契約をして作らせる。例えば、ここ数年、院内感染による患者の死亡率増加現象が気に掛かっていた。死亡率削減のため、全国運動を展開した。この目的は、院内感染削減のための立証できる科学的根拠を示す事だ。その後、院内感染の発症率を調べた。その結果、保守的に見積もっても、85,000人の患者の命を救うことができた。

予防はとても簡単な事である。院内感染削減のためには、チェックリスト作成といったシステムをきっちりと確立して、医療従事者全員が確実に守る事が重要だ。

では、道具の評価はどのようにするのか？

まだ、草案の段階で公の情報ではないが、いま道具評価に関する文章を作成中である。これは、まだ、皆に配布するような最終版ではない。道具制作に関わった科学者にせよ、組織にせよ、どの部局にせよ、どのような手法で道具を作成するのかを評価する必要がある。

そのために、多くのモデルを比較検討した。リサーチペイバックモデル (Research Pay Back) である、バクステイン、ヘイニーモデルを知っているか。彼らはイギリスの研究者で、エイジェンシー(部局)が何をしているかを、どんなメトリックスを使用して計れば良いかを調べた。

違った分野で、どのようにしているかを我々は調べた。

我々はある程度の幅をもたせて比較検討する。単純に数えやすい項目から、公衆衛生の政策に影響を与える度合いといった複雑な内容も含む。より安全性が増えたか、医療の質をより向上させたか、全ての患者にとってより利用し易くなったかといった具合に、色々な角度から検討する。

評価法の戦略として、今までに授与した助成金の研究内容を調査したり、契約研究プロジェクトを調べたりした。それぞれ、専門誌にどの位記事、論文が発表されたかを調べる。また、学会での発表数は何回あったか等も考慮する。勿論、引用度数の高さも調べ上げる。また、一般誌で、どの位記事に取り上げられたかも目を通す。米国議会において議論の内容になったかどうか調べる。

引用数等は、具体的に数えやすい単純作業であるが、法案作成に関連して、米国議会での話し合いがなされたかといった内容は、複雑な部類に属する。

第二点目は、評価法の道具を揃えたら、その使い方等に関して、医療専門家の教育訓練が重要だ。NIH 同様、我々の組織でも、多くの教育訓練プログラムを実践している。

訓練用の助成金もある。我々が作成した評価の道具類をもとに、我々が実際行った教育訓練プログラムを見直し、医療機関が実際、我々が提案した評価用道具をどの位採択したかを調査する。何人位実際に使い始めたかも調べる。これは、数えられる部類である。我々は、教育訓練参加者が研究論文に結びつけたかも調べる。また、その研究論文が引用されたかも調べる。

研究論文が、政策に影響を与えたかといったことも考慮する。新しい法律制定に影響を与えたか、或は、政策改定等になんらかの影響を与えたかを調べるのだ。

また、一般誌への影響力といったことも調査する。助成金を授与した研究内容が、どの位一般誌で取り上げられたかも調べる。米国では、Nexes、Lexes といったサービスがあり、電子的データは充実している。

また、教育訓練の講習会参加者が、専門分野でどれほど影響力を発揮しているかもある。このように多種多様な道具類を利用している。

それと同様、データ生成に関して、大きなデータベースが既にある。全国アンケート調査を我々は行っている。そして、そのデータは公になっているので、誰でも利用できる。ダウンロード回数といったデータ利用状況を把握している。それをもとに、専門誌の記事に取り上げられたのはどれ位かも調査する。その専門誌の記事が政府公共政策や、民間の政策等にどの程度影響を与えたかも調べる。

近い将来、もっと具体的に決まるが、今はまだ、初期段階に過ぎない。

米国議会の法案提案書の内容に、どの位専門誌の論文等が引用されたか、法案審議中、どの位それが取り上げられたかといったことも調べる。我々の組織は、公共政策により力を入れている。

米国では、Affordable Care Act (Obama Care) があり、我が組織は、この討論に役立つ、関連性の深い統計を多く所持している。Obama Care 批判の一つは、政治的反対派が Obama Care は正社員数が削減されると議論をした。反対派は、この法律が制定されれば失業率が増えると主張したのだ。

2週間ほど前、我々の研究者がこの内容に関する論文を発表した。「反対派の考え方の証拠は不十分だ」という、内容だった。実際は、雇い主はもっと雇用を生み出している。

地元紙であるワシントンポスト紙の記事欄で、ファクトチェッカー (Fact Checker、真実を調べる人) があるが、大統領候補の一人が、アフォーダブルケア法が失業率増加に悪影響を与えたという主張をしたのに対して、我々の文献

を引用して、その非を指摘した。この種のデータは、昨年頃から、引用される回数が増え続けている。新聞のファクトチェッカーが、我々が集めた統計を利用して反論しているのだ。

政治的に、我々の組織が注目を浴びはじめている。データが真実なものであれ、政治的に利用されると、組織の人気度が低くなる可能性も否定できない。

引用に関する公共政策は、Nexus Lexus というデータベースがある。過去に遡ってデータ追跡も可能だ。我々の組織内に、この分野の専門家がいて、定期的に報告書を作成している。

引用数だけを数えたのでは、不十分である。引用内容が、積極的に支持するのか否定的なのかといった内容も考慮する必要がある。追跡調査のためのシステム導入段階にある。広範囲の内容、時系列的データを充実させる必要がある。

まだ、この分野は話し合いが始まったばかりに過ぎない。日本側のこの分野の対応にも関心がある。日本も我が国も、この分野では初期段階だ。

例えば、我々は科学者並びに経済学者に、多くの資金を提供している。細胞生物学を例にとると、研究室があり、20人の研究者が勤務をしているとする。沢山の論文を発表している。それぞれの論文に、当然、当事者である科学者の名前がでる。H 指標と引用回数は、その研究室の場合が多い。

それに対して、経済学者は独立を重要視する傾向が強い。論文の執筆者名も、一人だけの場合が大半だ。おおくても、二人の名前が羅列される程度だ。しかも、経済学者間の長い伝統では、主な論文のみ公表する傾向が強い。有名な経済学者は、年に一度だけ、大きな論文を書く場合もある。あるいは、隔年ごとに発表する経済学者さえいる。でも、その経済分野では尊敬されている優れた経済学者である場合が多い。独立性が強いために、引用する人の数が限られている場合もある。

H 指標と引用回数をもとに、例えば、細胞生物学者と経済学者を比較検討することに無理が生じ易い。それ故、Richard Nakamura 氏も私もこのやり方に懐疑的なのだ。学界による論文発表スタイルの違いも考慮に入れる方策が大切になる。

Effectiveness 対 Efficacy に関してであるが、実践の際、科学的知識を多く使用しているかに焦点を当てている。

Equity (公平性) に関しては、国民の健康度並びに医療の不公平性に関する報告書が沢山でている。米国議会に、そのような報告書を提出している。収入により、性別により健康状態の差、医療機関の利用度等を比較検討している。

ある資金があるとして、医療分野のどの部分にどれ位投資をすれば、最良の結果を導き出せるかといったことも調査する必要があると、私の私見であるが考慮中だ。調査への投資だ。

国民に、近未来、中未来多大な影響を与える可能性の高い分野は何であるかといった見方も重要だ。不十分な資金しか出ていないが、研究の成果によっては、将来、国民の健康に多大な影響を与える可能性があり、その特定も重要だ。

国民全体の健康増進を考えると、教育程度の高さも重要な指標だ。高卒率、大学卒率を増やすことも、より質の高い人生享受に繋がるのだ。その分野に我が国は十分投資を行っていない。

韓国を見てみると、博士号取得が世界一である。また、世界で一番、教育制度が整っている。しかも、驚くべき寿命延伸が進んでいる。1960年代初頭、平均寿命が55歳そこそこであったが、今や、平均寿命が90歳に成ろうとしている。

平均寿命と社会経済発展には強い相関関係がある。私は、このような分野に興味を強く覚える。我々のこれまでの投資先が正しかったか、本来、限られた資金源を最も有効に利用するのは、どの分野が良いのかといったことも調査対象に考えたいのだ。国民の健康増進のための研究調査も含めたい。このことは、もっと注目されるべき内容である。

シンガポールも、韓国同様、優れている。教育程度が驚くほど高くなり、寿命も大躍進を遂げた。また、日本は世界一の長寿国であり、当然教育制度も充実している。

理由が技術面の進歩なのか、社会経済システム全体の改善が貢献しているのかを見極めるのは困難だ。

多くの国々で、心臓血管病に起因する死亡率は削減しているが、その理由が医療技術の進歩によるものもあるが、他の要素も、貢献している可能性が高い。

Cuttler 論文は、血管形成術(Angioplasty)やトロンボプラスチン(Thromboplastin)等の治療状況に力を入れている傾向が強い。現実には、このような高度な治療法は減速傾向にあり、年毎の変化も平であまり変化がない。でも、平均寿命は伸び続けている。

ところで、日本の喫煙者数が減っただろうか。

喫煙者数は減少した。

喫煙が、心臓病による早期死亡の原因になっていることに、注目しない傾向が見られる。確かに、相関関係を証明するのは困難だ。でも、病気以前の根本原因に、もっと力を入れて調査研究する必要があることも確かだ。米国内で、このことに関して、大きな議論を醸し出している。

公平性

公平性を計ることは大変難しい。米国内で、公平性に関しては、書類作成に力点を置いている。確かに公平性の問題は難しい。Affordable Care 法は、今までより、医療制度を利用しやすくなった。米国では、良い医療保険に加入していない人々が多い。そのため、公平性の観点から、グループ毎の比較検討が行われた。例えば、医療保険所持者達と医療保険のない人々の比較だ。職業、収入高といった社会経済的観点からの比較等だ。

皆保険制度が充実しているイギリスにおいても調査が行われたが、結果は同じで、社会経済的観点が重要な要素である。人生の質に関して、医療保険制度はほんの一部の貢献に過ぎない。米国は地理的にも大きな国で、国のある一部地域では、他の地域より悪く、地域差があるのだ。

我々は、多種多様な側面から調査研究をしている。経済的立場を良好にすることも影響する。但し、この分野の研究調査は、まだ、端緒についたばかりである。この方面への関心は高まっているが、未だ、初期段階に過ぎない。

例えば、教育程度の地域格差も大きい。米国の南部地域は、心臓病や、癌による死亡率が極めて高い。残念ながら、その地域では、教育程度も低い傾向が見られる。およそではあるが、教育程度と寿命の相関関係があると言える。

議論の一つとして、治療法に関するパンフレットを作成配布した場合も、その反応が教育度の高さに左右される。公平性にも大きな影響が出てしまいがちだ。

米国では、医療識字力、読解力の問題にも大きな関心が寄せられている。役に立つ医療関係のパンフレット等が公正に利用され易くすることも大切なのだ。NIH の中に、医療関連識字、読解力推進部がある。

また、医者と患者の関係にも、我々は関心を深めている。医者と患者の間で、治療に関する効率の良い情報伝達の仕方等も調査研究対象だ。この分野は大きな問題を含んでいる。

Effectiveness (効果) 対 Efficacy (効能)

RCT (Randomized Controlled Trial、ランダム化比較試験) を実行する時、Effectiveness なのか Efficacy なのか

RCT は、典型的な場合は Efficacy (効能) に関する試験だ。

RCT に参加する治験者が、一般市民を程よく代表していることが重要だ。我々の部署はそれ以上の研究調査も実施している。最終的使用者である医者や患者が、どのように利用しているかも調査する。

RCT の場合、自主的に治験者になる人は、一般人と違う。臨床試験の場合、除外項目や含めるべき条件等がある。糖尿病であっても、高血圧でないという人の数は少ない。

薬物療法を指示を守って行っている人が、自主的に治験者になる場合が多い。けれども、現実の世界では、薬を医師の指示通り飲まない人も多い。

NIHでは、この分野への関心が強まってきている。応用科学的見方の重要性が見直されている。

以上

参考資料2 NIH研究の効果

<http://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/impact-nih-research>

私たちの健康

- ・人々のより長寿でより健康的な暮らしを助ける
- ・疾病の死亡率を減少させる
- ・病気や障害を予防し、治療するための効果的な介入を発展させる

私たちの社会

- ・科学分野の雇用を支え、経済成長に拍車をかける
- ・より生産性の高い経済を実現する
- ・米国の競争を助けるとともに、世界に貢献する

私たちの知識

- ・革新的アイデアの発見およびトランスレーションを促進する
- ・主要な健康問題に取り組むための知識ベースを構築する
- ・新たな知識を創出する世界的な科学者を育成する

NIH（アメリカ国立衛生研究所）は、300億ドルを超える公的予算のもと、健康増進、長寿化、病気・障害の低減化を実現するというNIHの使命の達成に向け取り組んでいる、生物医学研究の世界最大の公的研究費助成機関です。NIHでは、本使命を追求するため、治療と予防を推進することにより健康増進を図り、経済成長および生産性を促進することにより社会に貢献し、さらには最先端の研究を助成し、現在および将来生物医学分野で活躍する人材を育成することにより、生物医学分野の知識ベースの拡大を図っています。

NIHの活動がもたらした様々な長期的な効果は、個々の疾病に対する研究資料からNIH全体に対する幅広い分析資料まで、様々な資料・情報により証明されています。上記の事柄について、さらに詳しい情報をお読みください。NIHがいかに公共投資に価値をもたらしているかお分かりいただけると幸いです。

私たちの健康

NIHが助成する研究は、その発見が、新たな医薬品、新たな装置、新たな診断ツール、病気を予防する新たな方法のいずれにつながるかにかかわらず、国内や世界の人々の健康に強い影響を及ぼし得るものです。

以下は、NIHの助成により生まれた発見が人々の健康増進に役立っている重要な例の一部です。

米国人の長寿化が進んでいる

- 1970年から2013年にかけて、**平均的な米国人の平均寿命は、70.8歳から78.8歳へと、8歳延びています。**¹
- 1969年から2013年にかけて、**あらゆる原因を対象とする米国の死亡率は、10万人あたり1,279人から730人へと、43%減少しています。**²

より健康な赤ちゃんが増えている

- 1960年には、米国で誕生した1,000人あたり26人の新生児が、1歳を待たずに死亡しています。この死亡率は、2010年までに、**1,000人あたり6人程度にまで低下しています。**³これは、NIHの研究が早産、新生児死亡、その他の問題に取り組んだことが大いに影響しています。
- NIHが助成した研究により、**39週前に生まれた新生児**に、危険な感染症や、呼吸・授乳に関する問題等の深刻な状態を引き起こすリスクがより高くなることが分かりました。このことから、母親たちに、医療上必要な場合以外早産を予防するよう訴える運動につながりました。

心臓病、脳卒中、糖尿病の死亡率が低下している。

- 心臓病による死亡率は、主にNIHが支援した研究の進歩により、1969年から2013年にかけて、**67.5%低下**しています。⁴
- フラミンガム心臓研究およびその他のNIHが支援した研究により、コレステロール、喫煙、高血圧等の**心臓病の危険因子**が特定されました。これに基づいて、心臓病予防の新たな戦略が生み出されました。
- 1995年、NIHが助成した臨床試験により、急性虚血性脳卒中に対する**最初のFDA承認薬**、tPA製剤が確立されました。
- 1950年以降、**脳卒中の死亡率は**、治療と予防に関するNIHが助成した研究を一因として、**79%⁵低下**しています。
- 米国では、糖尿病患者の数は増大していますが、**糖尿病患者の成人の死亡率は**1969年から2013年にかけて、**16.5%⁶低下**しています。1990年から2010年にかけて、**深刻な糖尿病合併症の割合が劇的に低下**しており、特に、心臓発作は68%、脳卒中は53%の低下を示しています。⁷これらの改善には、NIHが支援した臨床試験が大きく貢献しています。

- NIHの糖尿病予防プログラムは、食事や身体活動等のライフスタイルを変えることによって、この病気になる高いリスクにさらされている成人の2型糖尿病の発症リスクが58%引き下げられることを示しています。⁸

癌の予防および治療の進歩

- **癌**の死亡率は、1991年から2011年にかけて**22%低下**しています。**全体的な癌の死亡率**は、過去15年間で1年あたり1%超**低下**しています。米国がん学会は、癌の治療、発見、および予防の改善により、2015年には、150万人（男性100万人、女性44.7万人）の癌死亡者数が回避されたと推定しています。⁹
- 1990年から2012年にかけて、**乳癌の死亡率は34%低下**し、女性10万人あたり33.3人から21.9人に減少しています。乳癌は、米国で最も多く見られる癌の種類です。主としてNIHが支援した研究によって、女性は現在、乳癌遺伝子の検査や、より適切、より安全で、より効率的な治療を受けられるようになっています。¹⁰
- 肺癌は、2番目に多い癌であり¹³、米国の男女ともに癌関連死の主な原因となっています。NIHが助成した研究は、1990年から2010年までの男性36%、女性11%の**肺癌死亡率の低下**に貢献しています。¹²エルロチニブ（タルセバ）やクリゾチニブ（Xalkori）等の新たな標的治療は、その肺癌に特定の遺伝子突然変異がある人々の劇的な反応につながっています。
- 前立腺癌は、米国の男性の癌関連死の2番目の要因となるものです。NIHが支援した研究は、前立腺癌の治療を改善しています。この前進の理由の1つには、1990年から2010年にかけて、**前立腺癌の死亡率が43%低下**し、男性10万人あたり38.4人から21.9人に減少したことが挙げられます。¹³
- 革新的なNIH研究により、現在、2つのFDA承認ワクチン、サーバリックスとガーダシルが、**子宮頸癌**の約70%を引き起こすヒト乳頭腫ウイルス（HPV）の2つの型の感染予防に利用されています。

致死性のあるウイルスとの戦い

- **HIV/AIDS**が蔓延し始めた1980年代初め、このウイルスに感染した人々は、2~3年ほどで命を落とす高い可能性がありました。NIHと業界の先例のない協働的な取り組みにより、現在では、
 - **治療により、未発見レベルまでのウイルスの抑え込みが可能**です。
 - これらの治療を受けた米国に居住する**20歳の成人HIV陽性患者は、70代前半まで生存**するとされ、HIV非感染者とほぼ同等の寿命が見込まれています。¹⁴
 - 1987年から2010年にかけて、**死亡率は50%超低下**しています。¹⁵
- B型肝炎に感染すると、かつては治療できない致命的な病気に発展していました。NIH研究に基づいた徹底的なワクチンプログラムにより、**急性B型肝炎の割合は80%超低下**しています。¹⁶

- C型肝炎と診断されると、かつては何ヶ月にもわたって痛みを伴う注射を受けなければなりません。現在は、NIH研究等によって、効果的な**C型肝炎治療薬**が誕生しています。¹⁷

青年の薬物乱用および中毒に対する理解

- 過去30年間にわたり、NIHが助成した科学者たちが、青年の薬物乱用および中毒につながるリスクとメカニズムについて、多くの発見をしました。これにより、**新たな予防アプローチ**を提供できるようになりました。
- 現在、ティーンエイジャーの喫煙率は**8%**で、NIHが助成したモニタリング・ザ・フューチャー（MTF）調査がティーンエイジャーの薬物使用と傾向についての追跡を開始した**1975年以降最も低い割合**を示しています。¹⁸
- 同調査では、ティーンエイジャーによるアルコール利用率が、**1975年以降最低**であることも示されています。¹⁹

盲目および聴力損失に関する進歩

- 盲目の主な原因である加齢性黄斑変性症（AMD）は、かつてはほとんど治療できない病気でした。1991年、NIHが助成した臨床試験で、レーザー治療が**進行AMDの安定化**に有効であることが示されました。²⁰2001年、NIHの研究者は、抗酸化ビタミンとミネラルを毎日服用すると、**進行AMDの発症を遅らせる**ことができると発表しました。²¹2012年にNIHが支援した臨床試験では、2つの薬のうちの1つを使って長期的に治療した結果、**視力に劇的な持続的改善**が見られたことが示されました。²²
- NIHの努力の結果、**2010年に米国の病院で生まれたほぼすべての新生児が聴力検査を受けました**。1993年には、新生児のわずか10分の1しかこの検査を受けていなかった状況から大きく改善したことになります。²³
- NIHが支援した研究は、1950年代に発明された初の電子聴音装置から、今日利用できる高性能のデジタル装置まで、**補聴器の発展を促進**しています。
- FDAによれば、世界中で約**324,000個の人工内耳**が移植されており、**米国では約58,000人の成人と38,000人の子供**が利用しています。²⁴調査では、18カ月の月齢になる前の検査と移植により、難聴を患う**子供の80%超**が、一般の健常児のクラスに入れるようになり、**子供1人あたり30,000ドル超**の地域の節減を生むことが示されています。²⁵

怪我から助かる人々が増えている

- 1970年代中頃は、体の25%に及ぶやけどを負うと、ほぼ死に至っていました。²⁶現在では、**体の90%に及ぶやけどを負った人も生存**しています。²⁷患部の洗浄、皮膚移植、感染対策その他に関するNIHが助成した研究により、悲劇的なやけどや外傷から助かる機会が大幅に拡大しています。

- 1969年から2013年にかけて、**不慮の怪我による死亡率は約40%低下**し、10万人あたり65.1人から39.2人へと減少しています。²⁸
- 1990年から2010年にかけて、**自動車事故による怪我**からの10万人あたりの死亡率は**39%低下**し、18.5人から11.3人に減少しています。生存した人々は、より健康で、より優れた質の生活を得られるようになっています。これらの劇的な進歩は、主に研究によってもたらされています。²⁹

私たちの社会

NIHの助成は、研究分野の雇用を支え、新製品へと商業化される生物医学的革新をもたらすことにより、経済成長を刺激しています。NIHが支援した革新は、米国だけでなく世界における経済の強化、生産性の向上、病気・障害の低減を可能にする健康増進ももたらしています。これらすべての要素が、生物医学分野の革新をめぐる世界情勢の中で米国の競争力を維持することに役立っています。

以下は、NIHが支援した革新が社会の強化に貢献している例の一部です。

NIHの助成が国内の地域経済に直接貢献

- 2016年の予算額を320億ドルとするNIHは、**世界最大の生物医学研究の公的な研究費助成機関**です。**各州**およびほぼすべての下院議員選挙区がこの投資の分配を得ています。
- 2014年には、NIHの外部助成から、**全国的に推定約580億ドルの経済生産高**が創出されています。¹
- NIHが助成した研究により生まれた発見は、米国の生物医学業界の基盤を築くものであり、2011年には米国の**GDPに690億ドル**貢献し、**700万人の雇用**を支えています。²

NIHの研究が経済成長を促進

- 多数の調査から、疾病分野へのNIHの投資が、同分野への民間投資の増大を刺激していることが分かっています。^{3, 5}公的**基礎研究**への投資が1ドル増大すると、8年後の**産業R&D投資が8.38ドル**追加されます。公的**臨床研究**への投資が1ドル増大すると、3年後の**産業R&D投資が2.35ドル**追加されます。⁴
- NIHのヒューマンゲノムプロジェクト（HGP）は、結果として米国の居住者1人あたり年間たった2ドルの費用で、**約1兆ドルの経済成長**（178倍の投資利益）をもたらしました。⁵

- NIHが助成した基礎研究は、**新薬の市場投入**に拍車をかけ、一部の概算では43%の**公的投資へのプラスのリターン**をもたらしています。^{6, 7}

市民がより健康であることが、より健全な経済につながる

- 1970年から2000年までの期間の平均寿命に関する研究関連利益には、約**95兆ドル**（**1年あたり約3.2兆ドル**）の経済的価値があると推定されます。⁸
- 癌の死亡率は、過去15年間**毎年1%超低下**しています。⁹癌の死亡率が1%低下するごとに、米国の現在および将来の世代に約**5,000億ドル**の現在価値をもたらします。完全治癒には、約**50兆ドル**（現在のGDPの3倍超）の価値があるでしょう。¹⁰
- NIHが助成した閉経後ホルモン療法に対する臨床試験によって得られた知識は、2002年に本研究が発表されて以来、約**371億ドル**の純経済的利益に相当する長期的な財政および医療効果をもたらしていることが分かっています。これは、本臨床試験に投資した**1ドルにつき約140ドル**のリターンに相当します。¹¹

世界的な貢献と競争

- 米国は、**世界最大の生物医学研究の研究費助成機関**であり続けています。¹²
- 米国は、**生物医学研究論文の数で、依然として世界をリード**しています。2009年には33%を占めていました。¹³ただし、2000年から2009年にかけて米国のシェアは3%減少していますが、中国で発表する論文の数は毎年18.7%増えています。¹⁴
- しかしながら、北米、欧州、およびアジア-オセアニアの主要国と比較して、米国は、2004~2011年の**研究投資の年間伸び率が最も小さいこと**（年1%）が明らかとなっ
ています。中国（16.9%）、オーストラリア（9.3%）、日本（6.8%）、カナダ（4.5%）、欧州（4.1%）、およびその他のアジアの国々（20.8%）はすべて、より速い速度で研究投資の年間伸び率を伸ばしています。¹⁵
- 2014年のGlobal R&D Funding Forecastでは、2020年までの米国のR&D投資の伸び率が小幅であると予想し、現在の傾向が続けば、およそ2022年までに、**中国のR&D支出額の総額が米国の額を上回ると指摘**しています。¹⁶
- 2007年に、**中国は、自然科学およびエンジニアリング分野における博士号の数で、世界的リーダーの米国を追い越**しました。¹⁷
- 米国は、1997年以降毎年**医薬品の貿易収支がマイナス**となっています。これは、2000年代に0.25%から2.63%へと、GDPに占める医薬品貿易収支の割合を10倍に増大させたシンガポール等の国々とは全く対照的です。¹⁸

私たちの知識

NIHは、生物医学分野の知識の拡大に、重要な役割を果たしています。NIHが助成した研究は、毎年何万という新たな科学的発見につながっています。これらの基礎的な進歩と技術的発展によって、健康や生命のシステムに関する理解が拡大し、トランスレーショナルおよび臨床的進歩の発生に必要な構造的基礎が形成されています。また、NIHは、研究訓練を支援することにより、科学界内における新たな知識の創出も促進しています。

以下は、NIHが知識の進歩に貢献している重要な例の一部です。

世界的な研究者の支援と訓練

- **NIHの予算の95%**は、直接、研究の資金、プログラム、および実施施設、訓練プログラム、並びに研究開発契約に費やされています。¹
- NIHは、国内だけでなく世界の科学者も助成しています。毎年、NIHは**57,000件を超える研究および訓練への助成**を行っています。これにより、以下が支援されています。
 - 各州の
 - **2,500を超える大学**および組織における
 - **約30万人の研究者**²
- NIHは、NIH内のプログラムにおいて直接科学者を雇用しています。**NIHの予算の1%が**、メリーランド、ノースカロライナ、モンタナにあるNIHの研究所で働く**1,200人の主任研究員と4,000人を超える博士研究員に提供されています**。³
- NIHの研究者は、その分野のリーダーたちです。
 - 21人の内部研究者を含む、NIHが支援した145人の研究者が、**ノーベル賞**を受賞しています。
 - 31人の内部研究者を含む、NIHが支援した211人の研究者が、研究者や臨床医の医学への貢献を称える、「アメリカ版ノーベル賞」とも呼ばれる、**ラスカー医学研究賞**を受賞しています。
- NIHは、次世代の研究者を支援しています。2014年、NIHは、**8,600人を超える大学院生と5,800人を超える博士研究員**を支援しました。⁴

すべての科学者の知識ベースを構築

- NIHの助成金授与者は、科学者が知識を共有する主な場である科学雑誌に、自分の研究結果を公表しています。
 - 2014年だけでも、**95,178件の論文**に、過去5年間のNIHの助成支援への謝辞が認められます。
 - NIHの最も一般的なタイプの研究プロジェクト助成であるR01助成は、それぞれ平均**7.36件の発表研究論文**につながっています。⁵

- これらの論文は、他の科学者から参照されるようになり、1つの助成から生まれた発表は、学術文献に平均約**300回引用**されます。⁶
- NIHは、国立医学図書館（NLM）を通じて研究結果のレポジトリを支えています。
 - NLMのPubMed/MEDLINEは、現在、**世界で最も頻繁に使用されている科学・医学データベース**です。
 - 2014年、本データベースには、**7億人を超える**研究者、医師、一般の人々が**訪問**し、これらの人々は、**2,400万を超える利用可能な刊行物引用**にアクセスしています。⁷
- NIHの助成は、新規の発明と特許につながっています。
 - 2000年から2013年にかけて、NIHが助成した研究者は、**20,441件の独自の特許**を生み出しています。⁸
 - NIHの研究助成は、直接、**1億ドルの助成**および**契約助成あたり約6件の新たな特許**を生んでいます。⁹
 - 毎年の新たな助成ラウンドから、少なくとも**100～120件の新たな発明**が誕生することが見込まれます。¹⁰
- バイオテクノロジーおよび製薬業界は、NIHの助成により生み出された知識をもとに開発を進めるため、NIHの投資は、民間セクターの特許取得にも刺激を与えます。
 - NIHの助成が**1,000万ドル**増えるごとに、**民間セクターの特許が3.26件新たに**生まれます。
 - すなわち、**2件のNIHの助成ごとに1件の民間セクターの特許**が生まれていることとなります。¹¹
- NIHが助成した研究により得られた知識は、他の疾病へも**拡散**されています。民間セクターの生物医学特許の半数以上は、これらが引用するNIHの助成とは異なる疾病領域におけるものです。¹²

スポットライト：アルツハイマー病の原理を理解する

- つい30年前までは、アルツハイマー病についてほとんど知られていませんでした。
- NIHと他の組織が支援した研究により、脳の機能、リスク要因、治療、および予防についての**知識と理解が大幅に拡大**しました。
 - NIHが支援した研究は、脳の画像を使って、この疾病が発症する様子を劇的に理解できるようにしました。現在は、この研究が基になって、**この疾病の早期段階**、理想的には症状が現れる前から、**新たな治療を試せる**ことが分かっています。
 - アルツハイマー病用の**90種類を超える薬**の臨床試験が実施されており、さらに多くの薬が控えています。

- 薬剤開発を変革し加速させるためのNIH主導の官民パートナーシップ、**医薬品開発加速パートナーシップ**は、研究コミュニティが利用できる新たな**アルツハイマー病用のビッグデータポータル**を開始しました。
- NIHの支援により、現在、多くの科学者と医師が連携して、多くの年月をかけてアルツハイマー病を引き起こす遺伝子的、生物学的、および環境的要因の特定に取り組んでいます。これにより、この破壊的な疾病をより効果的に治療し予防できる段階へと近づいてきています。
- アルツハイマー病の治療に向けた現在の取り組みに関する詳細については、NIHの国立老化研究所から入手することができます。

スポットライト：慢性閉塞性肺疾患（COPD）

- COPDは**呼吸を困難にする**進行性の疾病です。「進行性」とは、疾病が時間の経過とともに悪化することをいいます。COPDは、米国における**死亡の3番目の主な原因**であり、身体障害の主な原因となるものです。¹³
- COPDには、2つの主な症状、肺気腫と慢性気管支炎が含まれます。COPD患者のほとんどが、この両方を患っています。
- **NIHが助成する研究では、以下等の問題を調査しています。**
 - 遺伝子はCOPDとどのような因果関係があるか？
 - COPDになりやすいのはどのような人々か？
 - どうすればCOPDを早期に特定できるか？
 - COPDのサブタイプはどのくらいあるのか？
 - COPDはどのように進行するか？
- NIHの助成は、新たな治療への道を切り開いています。多くの調査において、既にCOPD患者への**様々な潜在的治療が試されており**、新たな研究は、これらの疾病の進行を止める上で適切な治療法発見への扉を開いています。
- COPDの治療に向けた現在の取り組みに関する詳細については、NIHの国立心肺血液研究所から入手することができます。

厚生労働科学研究における研究成果の行政的アウトカムに関する評価方法の検討

研究分担者 神里 彩子（東京大学医科学研究所 特任准教授）

研究要旨

本分担研究では、厚生労働科学研究の研究成果について、行政的アウトカム（行政的観点からのインパクト、国民の健康・研究成果の利用者及び社会に与える効果など）をもたらすために必要な条件、また、適切に評価するための指標及び手法を検討することを目的とした。そのために、厚生労働科学研究の各研究事業における評価指標・手法の有無とその内容、行政的アウトカムが大きいと考える場合に何を基準として評価しているか等現状を調査した。また、各研究事業において行政的観点から成果があったと評価された研究課題（グッドプラクティス研究課題）はどのようなものか、また、どのように施策に反映され、施策に反映された要因はどこにあったか事例検討を行った。

本研究から、以下のことがわかった。

- ・ 研究成果の行政的アウトカムが得られるためには、研究成果が行政施策に結びつくことが必須である。それには行政側、研究者側それぞれでやらなければならないことがある。
- ・ 研究終了後一定期間が経過した後、行政施策の効果について評価・検証する機会を設定することが重要且つ必要である。
- ・ 研究成果の行政的アウトカムを評価するために評価指標を持っている研究事業は少なく、また、十分に検討されていない。
- ・ 今後、アウトカム評価を各事業で実施して行くことにより、各研究事業において何を指標とするべきかを検討し、その知見の蓄積が当該研究事業の評価軸として確立していくことが期待される。また、アウトカム評価を実施することにより、各研究事業において、研究の行政的効果・アウトカムを意識して研究課題設定を検討し、適切な課題設定へとつながることも期待される。
- ・ このような研究事業におけるアウトカム評価に加えて、継続的な研究を行っている研究班においては、研究計画の一部にそれを組み入れること推奨することも一案として考えられる。

A. 研究目的

本分担研究では、厚生労働科学研究の研究成果について、行政的アウトカム（行政的観点からのインパクト、国民の健康・研究成果

の利用者及び社会に与える効果など）をもたらすために必要な条件、また、適切に評価するための指標及び手法を検討することを目的とした。

そのために、厚生労働科学研究の各研究事