

## 難病の全国疫学調査の方法に関する検討

研究分担者：橋本 修二（藤田保健衛生大学医学部衛生学講座）  
研究協力者：川戸美由紀（藤田保健衛生大学医学部衛生学講座）  
研究分担者：福島 若葉（大阪市立大学大学院医学研究科公衆衛生学）  
研究分担者：川村 孝（京都大学環境安全保健機構健康科学センター）  
研究代表者：中村 好一（自治医科大学地域医療学センター公衆衛生学部門）

研究要旨：難病の全国疫学調査の方法について、最近の調査状況を確認しつつ、関連する課題を検討するとともに、「難病の全国疫学調査マニュアル」の第2版の内容を点検し、必要に応じて改訂することを目的とした。平成26年度は3年計画の初年度として、難病の全国疫学調査の方法について、関連する課題を検討するとともに、今後の検討に向けた計画を議論・考察した。平成27年度は2年目として、23年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討した。平成28年度は最終年度として、過去2年間の検討結果に基づいて、第2版の方法を点検、その記載を改訂し、当初の目的をおおよそ達成した。本報告では改訂された第3版全体の概要（方法の改訂を含む）を示した。第3版は「はじめに」「難病の全国疫学調査の意義」「難病の全国疫学調査の手順」「難病の全国疫学調査に基づく患者数の推計方法」「難病の全国疫学調査に係わる統計的課題」「難病の全国疫学調査の調査書類例」の6章で構成された。主な特徴より、今後の難病の全国疫学調査にあたって、第3版は高い有用性を有することが示唆される。

### A．研究目的

難病の全国疫学調査によって、多くの難病の患者数と臨床疫学像が明らかにされてきている。1990年頃に標準的な調査方法と患者数の推計方法が確立され、「難病の患者数と臨床疫学像把握のための全国疫学調査マニュアル」（以下、全国疫学調査マニュアル）が1993年に、第2版が2006年刊行された。

平成23～25年度、前研究班・研究会で、難病の全国疫学調査の方法について、近年の調査状況を考慮しつつ再点検が行われ、標準的な調査方法と患者数の推計方法にとくに大きな問題がないと結論づけられた。また、その実施については、事務的な作業の一部を外部に委託する体制が整備された（従前は研究機関が実施し、外部への委託なし）。その実施体制によって、視神経髄膜炎と傍シルビウス裂症候群の2つの全国疫学調査が実施された。

「難病の患者に対する医療等に関する法

律」の施行（平成27年1月1日）によって、300疾病以上が指定難病となった。それに伴って、全国疫学調査の対象とする難病の範囲が拡大し、疾患特性（患者数、性・年齢分布、受療状況など）の多様化がさらに進む可能性があると考えられる。

本研究の目的としては、難病の全国疫学調査の方法について、最近の調査状況を確認しつつ、関連する課題を検討するとともに、全国疫学調査マニュアルの第2版の内容を点検し、必要に応じて改訂することとした。

ここでは、平成26～28年度の研究の概要とともに、全国疫学調査マニュアル全体の改訂の概要を含めて報告する。以下、全国疫学調査マニュアルの改訂版を第3版と呼ぶ。

### B．研究方法

平成26年度は3年計画の初年度として、難病の全国疫学調査の方法について、関連する

課題を検討するとともに、今後の検討に向けた計画を議論・考察した。平成 27 年度は 2 年目として、23 年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討した。平成 28 年度は最終年度として、難病の全国疫学調査の方法について、全国疫学調査マニュアルの第 2 版の内容を点検・改訂した。

#### (倫理面への配慮)

本研究では、既に実施された調査結果データ(個人情報を含まない)のみを用いるため、個人情報保護に係る問題は生じない。

### C. 研究結果

図 1 に 3 年間の研究計画を示す。以下、各年度の検討結果の概要を示す。

#### 1. 平成 26 年度

難病の全国疫学調査の方法における 2 つの課題と今後の計画を検討した。無作為回収の検討の課題として、3 つの難病の全国疫学調査において、督促前後の患者の有無別の施設回収状況を用いて、無作為回収の仮定による推計患者数の偏りがそれほど大きくないことが再確認された。調査対象期間 1 か月データに基づく年間有病数の検討の課題として、不応性貧血の全国疫学調査(1991 年)の回収結果(1 か月データ)および追加調査結果(一部の施設での診断日)から、時点有病数と年間有病数の推計を試みた。この方法の適用には課題と制限が大きいと考えられた。今後の計画として、最近の全国疫学調査の方法面を確認・検討するとともに、全国疫学調査マニュアルを点検し、必要に応じて改訂することとした。なお、検討結果の詳細は「橋本修二,川戸美由紀,川村 孝,中村好一.難病の全国疫学調査の方法に関する検討:課題と計画.厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患等政策研究事業)難治性疾患の継続的な疫学データの収集・解析に関する研究 平成 26 年度総括・分担研究報告書:2015;3-9.」を参照されたい。

#### 2. 平成 27 年度

難病の全国疫学調査の方法に関する検討として、平成 23 年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討した。新しい実施体制による視神経脊髄炎と傍シルビウス裂症候群の全国疫学調査における調査方法と回収状況は、

旧の実施体制による 7 つの全国疫学調査のそれと大きな違いがなかった。新しい実施体制による 2 つの全国疫学調査では、患者数の報告対象が疾患よりも細分された単位(診断基準を満たす・満たさない、確診・疑診などの別)であり、また、回収率が 55%未満でやや低かった。これには、実施体制よりも対象とした難病の特性がより強く関係したと考えられる。詳しい回収状況(記載年月日別の回収施設数の分布、督促前後の回収率、患者の有無による回収率比)をみると、新旧の実施体制による全国疫学調査の間に違いが見られた。なお、検討結果の詳細は「橋本修二,川戸美由紀,玉腰暁子,川村 孝,中村好一.難病の全国疫学調査の方法に関する検討:最近の調査・回収状況.厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患等政策研究事業)難治性疾患の継続的な疫学データの収集・解析に関する研究 平成 27 年度総括・分担研究報告書:2016;3-10.」を参照されたい。

#### 3. 平成 28 年度

過去 2 年間の検討結果に基づいて、第 2 版の方法を点検、その記載を改訂した。

第 3 版は「はじめに」「難病の全国疫学調査の意義」「難病の全国疫学調査の手順」「難病の全国疫学調査に基づく患者数の推計方法」「難病の全国疫学調査に係わる統計的課題」「難病の全国疫学調査の調査書類例」の 6 章で構成された。主な特徴として、現行の全国疫学調査の手順が詳細に記載され留意点が明記されていること、特発性大腿骨頭壊死症の全国疫学調査に基づいてすべての調査書類が提示されていること、調査方法と患者数の推計方法は第 1 版・第 2 版と同一の標準的な方法が採用されていること、標準的な方法に係わる統計的課題について研究結果の概要と関連文献が紹介されていることが挙げられた。なお、検討結果の詳細は「橋本修二,川戸美由紀,福島若葉,川村 孝,中村好一.難病の全国疫学調査の方法に関する検討:難病の全国疫学調査マニュアルの改訂.厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患等政策研究事業)難治性疾患の継続的な疫学データの収集・解析に関する研究 平成 28 年度総括・分担研究報告書:2017.」を参照されたい。

### D. 考察

平成 26 年度は難病の全国疫学調査の方法に

関連する課題の検討によって、無作為回収の仮定による推計患者数の偏りがそれほど大きくないことが再確認され、また、時点有病数、年間有病数と年間罹患数の推計は試みられた。これらの結果は第2版の改訂の参考になると考えられた。今後の検討に向けた計画の議論・考察の結果は平成27年度と28年度の研究計画の具体化につながった。

平成27年度は23年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討した。詳しい回収状況を見ると、新旧の実施体制による全国疫学調査の間に多少の違いがあったものの、標準的な調査方法と患者数の推計方法の適用にはとくに影響がないと考えられた。

平成28年度は過去2年間の検討結果に基づいて、第2版の方法を点検した。全国疫学調査の調査方法と患者数の推計方法としては、標準的な方法が広く利用され、また、その妥当性が確認されている。第2版には標準的な方法が採用されており、その記載は大筋で改訂の必要がないと考えられた。標準的な方法に係わる統計的課題については、第2版の刊行後に、いくつかの重要な研究結果が公表された。第2版の記載に、その研究結果と文献を追記することが重要であると考えられた。実際、この追記が第3版の改訂に反映され、これより、本研究の当初の目的がおおよそ達成されたと考えられる。

第3版について、主な特徴として4点が挙げられた。第1点としては、現行の全国疫学調査の手順が詳細に記載され、留意点が明記されていることであった。これは全国疫学調査のマニュアルとして必要な要件であって、かつ、今回の改訂で最も重要な事項と考えられる。第2点としては、特発性大腿骨頭壊死症の全国疫学調査に基づいて、すべての調査書類が提示されていることであった。これは、今後の難病の全国疫学調査の実施にあたって、1つの模範を与えるものである。第3点として、調査方法と患者数の推計方法は第1版・第2版と同一の標準的な方法が採用されていることであった。第4点として、標準的な方法に係わる統計的課題について研究結果の概要と関連文献が紹介されていることであった。これらは、難病の全国疫学調査の方法に関する本研究の成果であると考えられる。以上より、今後の難病の全国疫学調査にあたって、第3版は高い有用性を有することが示唆される。

## E．結論

難病の全国疫学調査の方法に関する検討を3年計画で実施した。平成26年度は方法に関連する課題を検討するとともに、今後の検討に向けた計画を議論・考察した。平成27年度は23年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討した。平成28年度は過去2年間の検討結果に基づいて、第2版の方法を点検、その記載を改訂し、当初の目的をおおよそ達成した。本報告では改訂された第3版全体の概要(方法の改訂を含む)を示した。第3版は「はじめに」「難病の全国疫学調査の意義」「難病の全国疫学調査の手順」「難病の全国疫学調査に基づく患者数の推計方法」「難病の全国疫学調査に係わる統計的課題」「難病の全国疫学調査の調査書類例」の6章で構成された。主な特徴より、今後の難病の全国疫学調査にあたって、第3版は高い有用性を有することが示唆される。

本研究に貴重なコメントを頂戴した「難病の全国疫学調査マニュアル第3版」の監修者の廣田良夫保健医療経営大学学長・大阪市立大学名誉教授に深甚の謝意を表します。

## F．研究発表

### 1．論文発表

1) Hashimoto S, Kawado M, Kawamura T, Nakamura Y. Effect of non-response bias on estimates of the numbers of patients with intractable diseases based on nationwide epidemiological surveys of Japan. *Fujita Medical Journal* 2016;2(3):55-8.

### 2．学会発表

該当なし

## G．知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む)

### 1．特許取得

該当なし

### 2．実用新案登録

該当なし

### 3．その他

該当なし

図1 . 3年間の研究計画

研究目的：

難病の全国疫学調査の方法について、最近の調査状況を確認しつつ、関連する課題を検討するとともに、「難病の全国疫学調査マニュアル」の第2版の内容を点検し、必要に応じて改訂する。

平成26年度の計画：

難病の全国疫学調査の方法について、関連する課題を検討するとともに、今後の検討に向けた計画を議論・考察する。

平成27年度の計画：

難病の全国疫学調査において、平成23年度以降の新しい実施体制による調査・回収状況を確認し、旧の実施体制によるそれと比較・検討する。

平成28年度の計画：

「難病の全国疫学調査マニュアル」の第2版の方法を点検し、その記載を改訂する。