

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
第3版

2017年1月

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・解析に関する研究班
研究代表者 中村好一

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 第3版

監修 中村好一 (自治医科大学)
廣田良夫 (保健医療経営大学、大阪市立大学名誉教授)

執筆 中村好一 (自治医科大学)
川村 孝 (京都大学)
福島若葉 (大阪市立大学)
橋本修二 (藤田保健衛生大学)

2017年1月

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・解析に関する研究班
研究代表者 中村好一

目次

I. はじめに	中村好一
II. 難病の全国疫学調査の意義	川村 孝
全国疫学調査の必要性	3
全国疫学調査の歴史	4
全国疫学調査の概要	5
III. 難病の全国疫学調査の手順	福島若葉
調査対象疾患の選定	7
調査対象機関の選定	9
発送リストの作成	11
調査書類の作成	11
倫理面の手続き	12
調査書類の発送	13
一次調査の集計	14
患者数の推計	14
二次調査の集計	14
結果の公表	15
調査費用	15
調査結果の利用	16
予後調査への展開	16
IV. 難病の全国疫学調査に基づく患者数の推計方法	橋本修二
患者数推計の枠組みと仮定	17
患者数の推定方法	20
文献	23

V. 難病の全国疫学調査に係わる統計的課題 橋本修二

調査方法の課題	24
患者数の推計方法の課題	29
文献	33

VI. 難病の全国疫学調査の調査書類例 福島若葉

資料1. 一次調査依頼状	35
資料2. 一次調査再依頼状	36
資料3. 一次調査票（葉書）	37
資料4. 礼状	38
資料5. 診断基準	39
資料6. 二次調査依頼状	40
資料7. 二次調査抽出状況調査票（兼）一次調査葉書コピーの貼付用紙	41
資料8. 二次調査個人票	42
資料9. 対象者番号とカルテ番号の対応表	43
資料10. 情報公開文書	44
資料11. 発送ラベル	45

I. はじめに

1972（昭和47）年度に厚生省（当時）の難病の疫学に関する研究班が発足してから45年が経過した。一時期、厚生労働省からの研究費が途絶えたこともあったが、廣田良夫先生（保健医療経営大学、大阪市立大学名誉教授）のご尽力により、補助金は途絶えても研究はグループとして継続し、新たな研究班として2014（平成26）年度から現在の体制に至っている。現在の研究班は難病の疫学に関する3本柱、すなわち、(1) 頻度・分布の観察、(2) 危険因子の解明、(3) 予後（疾病の自然史）の解明、を基本として研究を進めている。

この中でもすべての研究の基本となる頻度・分布の観察は従来から疾患ごとの全国疫学調査を1つの中心として進められてきた。歴代の難病疫学班、特に青木班（班長：青木國雄名古屋大学名誉教授、1982〔昭和57〕～1987〔昭和62〕年度）、柳川班（班長：柳川洋自治医科大学名誉教授、1988〔昭和63〕～1992〔平成4〕年度）、大野班（班長：大野良之名古屋大学名誉教授〔故人〕、1993〔平成5〕～1998〔平成10〕年度）、稲葉班（班長：稲葉裕順天堂大学名誉教授、1999〔平成11〕～2004〔平成16〕年度）、永井班（永井正規埼玉医科大学名誉教授、2005〔平成17〕～2010〔平成22〕年度）、および廣田グループ（2011〔平成23〕～2013〔平成25〕年度）では、多数の難病について、難病ごとに設けられた臨床班と共同で全国疫学調査を実施してきた。以前は対象疾患の特徴をもとに、その都度調査方法を検討してきたが、このような方法論を統一し、1994（平成6）年に「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」が難病疫学班から刊行され、以降はこのマニュアルに従って全国疫学調査を実施してきた。その後、時代の変化、すなわち、特定疾患医療受給者を集約するシステムの稼働や個人情報保護法の制定などにより、マニュアルを改訂し、第2版を2006（平成18）年に刊行した。

第2版の刊行から10年が経過し、さらに状況が大きく変化した。すなわち

- (1) 「難病の患者に対する医療等に関する法律」（いわゆる「難病法」、2014〔平成26〕年公布）の制定
- (2) 国の「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」の制定（2015〔平成27〕年施行）
- (3) 事務作業が膨大となり、大学の1つの講座では対応が難しくなり、事務作業を外部委託することが一般的になってきたこと

などにマニュアルを対応させる必要性が発生してきた。そこで、2016（平成28）年度の研究の一部として、これまでも深く全国疫学調査に関与してきた難病疫学研究班の班員により、改訂を行い、本マニュアルを第3版として世に問うものである。

本改訂マニュアルが難病疫学研究のさらなる発展につながり、臨床班と疫学班の相互理解、行政関係者その他の難病患者の支援施策への反映、さらに難病以外の疾患で記述疫学像を明らかにする研究を計画する研究者や行政担当者の参考になれば幸甚である。

Ⅱ. 難病の全国疫学調査の意義

全国疫学調査の必要性

いわゆる難病に対して国として対策を講ずるには疾患の実態を把握しなければならないが、その中でも患者数と臨床像はもっとも基本的な情報である。難病は一般に稀発性であるため、それらの評価には全国レベルでの症例集積が不可欠である。

難病の患者数や臨床像を知るための主な既存資料には、1) 人口動態統計、2) 患者調査、3) 日本病理剖検輯報、4) 難病医療費助成制度、5) 健康保険診療報酬明細書および診断群分類別包括支払い制度などがある。

1) 人口動態統計

人口動態統計から得られる疾患の情報は死亡例に限られるが、死亡診断書に基づいて全国統一的に行われているため悉皆性がある。全死亡中で難病が占める相対頻度、地域別・年代別死亡状況などを知るにはよい資料となる。一方、死亡に至りにくい難病の情報は乏しく、死因分類と各難病が十分に対応していない、死因分類が原死因のみであるため難病が原死因でない場合は統計に現れないなど、難病の全体像を知るには不十分である。

2) 患者調査

厚生労働省が3年に1度、全国の病院・診療所を所定の割合で抽出して行う患者の実態調査で、入院・通院患者を対象にしているため軽症例の情報も得られる。ただし、特定の1日の調査なので、稀少疾患では受療間隔や専門外来の開設日等の影響が出やすく、また、主たる診断・治療目的の傷病名しか記載されないため、有病患者全体の捕捉には若干の問題がある。

3) 日本病理剖検輯報

詳細な病理学的知見が得られ、主病変以外の副病変についても記載されているなど情報量の多い媒体である。人口動態統計と同様に死亡者についてのみであり、また日本では剖検率が低くて地域差や施設差があるなど数の捕捉には向いていないが、難病の病因や合併症の検討（質的研究）にはよい資料となる。

4) 難病医療費助成制度

「難病の患者に対する医療等に関する法律」（難病法）に基づいて国が指定した難病（指定難病）に対して医療費の公費負担が行われており（難病医療費助成制度）、その受給者数は有病患者数の一指標である。医療受給者証を申請する際に提出される臨床調査個人票は臨床像の把握に有用である。近年は対象疾患も大幅に増え、難病データベースとしての価値が高ま

っている。ただし、後期高齢者医療制度や障害者医療費助成制度などの利用で難病患者がすべて特定疾患医療受給制度による医療を受給しているわけではなく、都道府県により医療受給者証の交付基準が一律ではない、といった問題点もある。

5) 健康保険診療報酬明細書および診断群分類別包括支払い制度

各医療機関が保険者に診療報酬を請求する際に作成する診療報酬明細書に記載される病名や医療行為の情報（いわゆるレセプト・データ）、あるいは診断群分類別包括支払い制度の情報（いわゆるDPC/PDPSデータ）を利用するものである。前者は単独もしくは複数の保険者（健保組合など）から医療費と特定健康診査（いわゆる健康診断）に関するデータの提供を受けてデータベースとして整備されたもの、後者は当該制度利用医療機関の診療データをとりまとめたものであり、近年さかんに利用されているものである。

いずれも行われた医療行為についてはほぼ確実に捉えられているが、病名が診療報酬を請求するために必要なものであり（難病については脱落の危険あり）、また、別の保険者や医療機関に移った場合に情報が途切れる、保険者や医療機関が必ずしも代表性を持つものではない、といった限界がある。

全国疫学調査の歴史

既存の資料のみでは難病の患者数や臨床像が十分に把握できないので、昭和47年度に厚生省特定疾患調査研究班が設置されて以来、疾患ごとの調査研究班（従来の「臨床班」、現在の「領域別基盤研究分野」に含まれる研究班、以下、「臨床班」と表記）が独自に、あるいは難病の疫学調査研究班（疫学班）と合同で、全国的な患者数・臨床像把握のための調査が行われてきた。特に、難病疫学の青木班（昭和57～62年度）、柳川班（昭和63～平成4年度）、および大野班（平成5～10年度）の時代には多数の難病について臨床班と共同して調査が進められてきた。その後の稲葉班（平成11～16年度）、永井班（平成17～22年度）、廣田グループ（平成23～25年度）、中村班（平成26年度～）においても、継続的に調査が行われている。いくつかの疾患では複数回の調査も実施されている。

手間のかかる全国疫学調査が連綿と続いている背景には、正確な患者数とその変遷を知ることのほか、検査法の進歩により病態の本質が判明したか、治療法の進歩により予後やQOLが向上しているか、経済や生活様式の変化が疾患にどのような影響を与えているか、受療動向に変化があるか、社会的な支援体制は十分か、などを検証する意味あいもある。また、現在の臨床班には厚生労働省から「診断基準」や「診療ガイドライン」の作成が課題として要求されており、これらの課題に対しては対象難病の臨床疫学像の把握は必須であることも背景にある。

調査は、平成4年までは200床以上の全病院を対象に行われていたが、平成5年度からは病院の規模別に定められた抽出率（5～100%）で対象施設を選ぶ標本調査に変更され、従来は不明であった小規模医療機関の受診者の状況もある程度つかめるようになった。ただ、先天性の疾患で社会的な支援は必要だが治療法がない疾患の場合、診断時以外は医療機関を受診し

ないで特別支援学校・学級でケアを受けていることもある。特別支援学校・学級は文部科学省および各自治体の教育委員会の所掌であり、それらに対する調査については今後の課題となろう。

全国疫学調査の概要

全国疫学調査は、患者数推計のための一次調査と、基本的な臨床像を把握するための二次調査からなる。一次調査はきわめて多数の医療機関に対して行われており、回収率を高めるためには回答が容易であることが必要で、原則として男女別の患者数の報告のみにとどめている。二次調査では、一次調査で患者ありと報告した施設に対して個々の患者の人口学的事項、受療や医療費に関する事項、臨床的事項を調査する。患者の居住地、発症および初診の年月日、入通院の区別、医療の公費負担の有無など、ほとんどの疾患に共通な項目と、症状、診断、治療など疾患に固有の項目がある。二次調査においても質問が詳細すぎると返送率が低下するので、調査項目数を限定し、回答しやすい質問形式にしている。

一次および二次調査によって現在の関心領域のかなりの部分について情報収集が可能であるが、さらに詳細な臨床データや生活習慣等に関する検討は三次調査あるいは独立した調査として別途計画することになる。その際、この全国疫学調査によって患者集積性が高い施設を選んで協力を要請することも可能となる。また、二次調査結果をもとに追跡調査（予後調査）を行う場合もある。

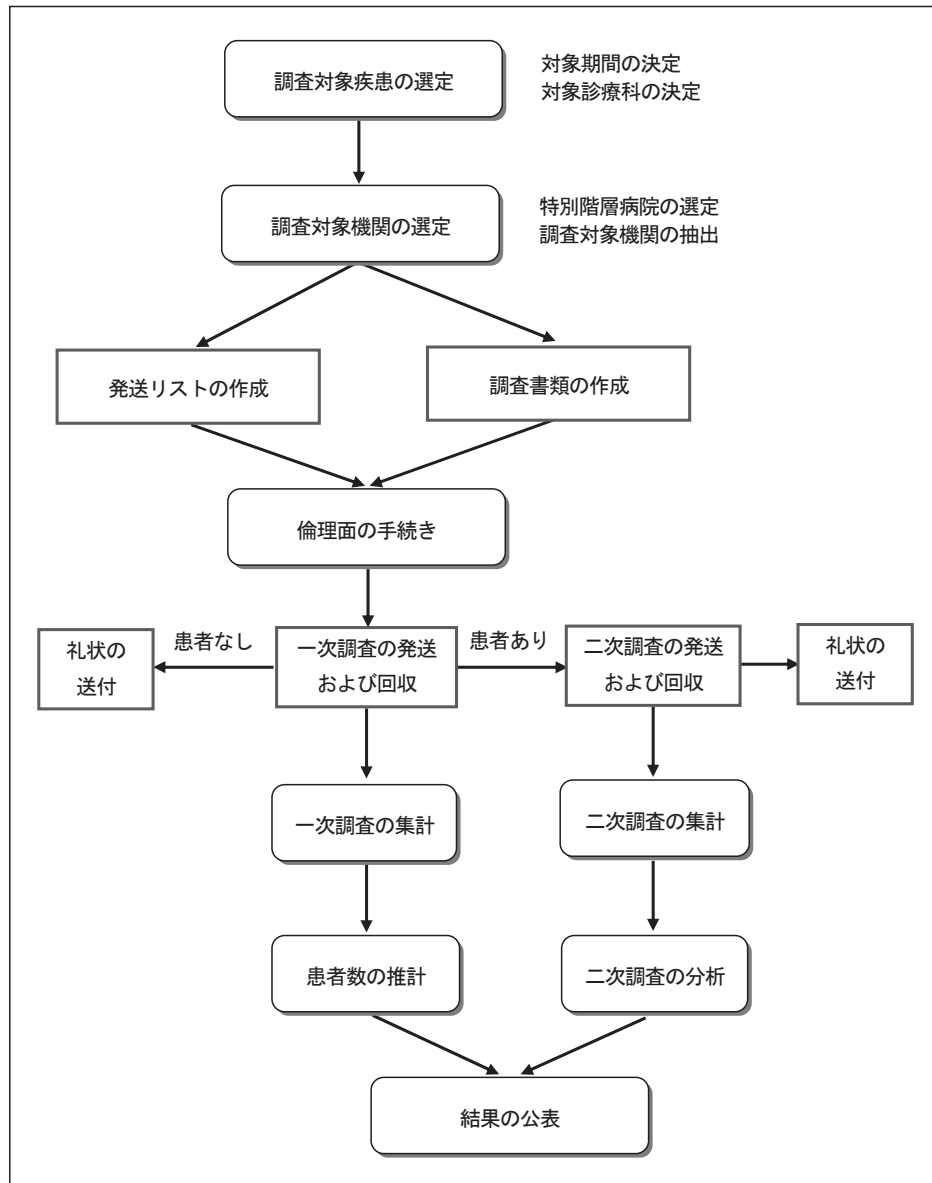
難病の全国疫学調査は、従来は臨床班の必要により提案される場合が多かった。しかし特定疾患全体の動向を知るため多数の疾患について定期的に行う必要があるため、最近では、疫学班が各臨床班の意向を確認しながら、調査に協力する医療機関（診療科）の負担や調査のための費用をも考慮して調整・計画し、毎年数疾患の調査を実施している。調査の実務は臨床班と疫学班がそれぞれ得意な分野を担当して行う。また、これによって得られた業績は臨床班と疫学班の双方に帰属し、それぞれの必要に応じて発表し活用する。

全国疫学調査は、する側もされる側も大変な手間と時間を要し、費用も相当額に上る。将来的にはこれに代る新しい方法の導入が望まれるが、現時点では全国疫学調査が標準と位置づけられ、当面その価値が減ずることはないであろう。

Ⅲ. 難病の全国疫学調査の手順

調査の流れを図3-1に示す。

図3-1 難病の全国疫学調査の手順



調査対象疾患の選定

全国疫学調査の調査対象疾患は、臨床各班の要望に基づいて選定する。その際、

- (1) 調査のための診断基準が確立していること
- (2) 全国疫学調査でなければならぬほど稀少であること
- (3) 原則として他の方法で調査されないこと

(4) 当該疾患について未調査であるか、または前回の調査から数年以上経過していることを考慮する。多くの場合、年度内に複数の全国疫学調査が実施されることになるため、実際の選定に当たっては、多岐にわたる疾患を同時に回答することになる病院側の便宜や、調査にかかる経費を考慮して組み合わせを決めている。

調査対象患者は、原則として過去 1 年間の全該当疾患患者（入院・外来、新規・再来のすべて）とする。しかし予想される患者数がきわめて少ない疾患の場合、患者数の推計精度を上げ、また二次調査で十分なデータを得るために、過去 3 年間あるいは 10 年間の患者数とすることもある。その場合でも最近 1 年間の患者数が推計できるように、一次調査の時点で過去 3 年間あるいは 10 年間に加えて過去 1 年間の患者数も併記するよう調査票を作成するとよい。1 年間の区切りとしては、病院内の診療録（カルテ）検索の都合からも、他の既存資料との比較の面からも、1 月から 12 月が好ましい。

この調査は診療科単位に行われるものであり、病院単位に行われるものではないので、当該疾患患者の受療行動を考慮して調査対象診療科を決定する。調査対象診療科を受療していない患者は当然把握されないことになるので、調査対象診療科はやや広めに設定する必要がある。ただし調査費用がかかること、病院側に作業の負担をかけることから、いたずらに対象診療科を広げるべきではない。対象診療科の選択は、専門家が所属する臨床班が主に担当する。

調査対象診療科に該当患者がいなかったために、対象外の診療科に書類が回されることがある。転送された調査票が返送されると、回答内容を整理する際に混乱を来すことになる。これを避けるため、回収される一次調査票（葉書）にはあらかじめ住所、施設名、診療科名を記したラベルを添付することが望ましい。

診療科名については、2008 年 4 月に医療法の一部が改正され、広告可能な診療科名の見直しが行われた。これにより、従来の「標榜可能な診療科名一覧」はなくなり、どのような文字列（単語）が標榜可能かということと、組み合わせのルールを定めるのみとなった。その組み合わせは膨大になるためすべてを示すことはできないが、日本医師会のホームページ上で、「広告するに当たって通常考えられる診療科名の例示(医科)」が公表されている(表 3-1)。なお、全国疫学調査の目的に鑑み、調査依頼先としての診療科名をより簡便に選びたい場合は、厚生労働省による医療施設調査の調査票で使用されている 43 診療科名(医科 39、歯科 4)を参照してもよい(表 3-2)。

表 3-1 広告するに当たって通常考えられる診療科名の例示（医科）

内科	外科	泌尿器科
呼吸器内科	呼吸器外科	産婦人科
循環器内科	心臓血管外科	産科
消化器内科	心臓外科	婦人科
心臓内科	消化器外科	眼科
血液内科	乳腺外科	耳鼻いんこう科
気管食道内科	小児外科	リハビリテーション科
胃腸内科	気管食道外科	放射線科
腫瘍内科	肛門外科	放射線診断科
糖尿病内科	整形外科	放射線治療科
代謝内科	脳神経外科	病理診断科
内分泌内科	形成外科	臨床検査科
脂質代謝内科	美容外科	救急科
腎臓内科	腫瘍外科	児童精神科
神経内科	移植外科	老年精神科
心療内科	頭頸部外科	小児眼科
感染症内科	胸部外科	小児耳鼻いんこう科
漢方内科	腹部外科	小児皮膚科
老年内科	肝臓外科	気管食道・耳鼻いんこう科
女性内科	膵臓外科	腫瘍放射線科
新生児内科	胆のう外科	男性泌尿器科
性感染症内科	食道外科	神経泌尿器科
内視鏡内科	大腸外科	小児泌尿器科
人工透析内科	内視鏡外科	小児科（新生児）
疼痛緩和内科	ペインクリニック外科	泌尿器科（不妊治療）
ペインクリニック内科	外科（内視鏡）	泌尿器科（人工透析）
アレルギー疾患内科	外科（がん）	産婦人科（生殖医療）
内科（ペインクリニック）	精神科	美容皮膚科
内科（循環器）	アレルギー科	
内科（薬物療法）	リウマチ科	
内科（感染症）	小児科	
内科（骨髄移植）	皮膚科	

出典：日本医師会ホームページ「診療科名の標榜方法の見直し」
<https://www.med.or.jp/doctor/report/hyoubou/reiji.html>
 (2016. 12. 15アクセス)

表 3-2 厚生労働省「医療施設調査」の調査票で使用されている診療科名一覧

番号	診療科名	番号	診療科名
01	内科	26	形成外科
02	呼吸器内科	27	美容外科
03	循環器内科	28	眼科
04	消化器内科（胃腸内科）	29	耳鼻いんこう科
05	腎臓内科	30	小児外科
06	神経内科	31	産婦人科
07	糖尿病内科（代謝内科）	32	産科
08	血液内科	33	婦人科
09	皮膚科	34	リハビリテーション科
10	アレルギー科	35	放射線科
11	リウマチ科	36	麻酔科
12	感染症内科	37	病理診断科
13	小児科	38	臨床検査科
14	精神科	39	救急科
15	心療内科	40	歯科
16	外科	41	矯正歯科
17	呼吸器外科	42	小児歯科
18	心臓血管外科	43	歯科口腔外科
19	乳腺外科		
20	気管食道外科		
21	消化器外科（胃腸外科）		
22	泌尿器科		
23	肛門外科		
24	脳神経外科		
25	整形外科		

出典：厚生労働省「医療施設動態調査票」

http://www.mhlw.go.jp/toukei/chousahyo/dl/iryoushisetu/H28_doutai.pdf

(2016. 12. 15アクセス)

調査対象機関の選定

調査対象診療科ごとに以下の4条件を満たすように調査対象機関を設定する。

- (1) 全病院が対象
- (2) 抽出率は全体で約 20%
- (3) 抽出は層化無作為抽出とし、層は 8 つ
 - ① 大学医学部（医科大学）附属病院
 - ② 500 床以上の一般病院
 - ③ 400～499 床の一般病院
 - ④ 300～399 床の一般病院
 - ⑤ 200～299 床の一般病院
 - ⑥ 100～199 床の一般病院
 - ⑦ 99 床以下の一般病院
 - ⑧ とくに患者が集中すると考えられる特別な病院（特別階層病院）
- (4) 各層の抽出率は、それぞれ 100%、100%、80%、40%、20%、10%、5%、100%

診療科によっては上記の抽出率で抽出すると、層内の病院数が極端に少なくなることがある。その場合に抽出率を高くすることは差しつかえない。特別階層病院は、調査対象疾患患者が多く集まると考えられる病院を選ぶ。多くの場合、臨床班の班員や関連する学会の評議員らが所属する病院としている。これは、層内に報告患者数のばらつきが多いと推計精度が低くなることを防ぐ一方で、調査対象疾患患者が多く受診する病院を漏らさず調査することにより、二次調査で対象とする患者数を確保することが目的である。したがって、特別階層病院からの回答率は、原則として100%を目指す。その選定は臨床班に一任されるが、調査を実施する前に調査への協力を要請しておくことが望ましい。

また、特別階層の病院は、事前に他の層から除いた上で、その後の抽出作業に移ることになる。そのため、住所も含めた特別階層病院リストを早期に調査事務局に提出する必要がある。

全国の病院データ（病院番号、所在地、施設名、診療科目など）は、以前は「病院要覧」（医学書院）をベースとし、それまでの調査で判明した情報を加味して使用していた。しかし、「病院要覧」の発行は2003-2004年版が最後であり、次版の発行も予定されていない。そのような状況から、現在は、商業ベースで利用できるものも含めて、調査用の全国病院データを選定している。選定の際は、下記の条件を考慮するとよい。

- ・全国の病院のカバー率が良い。
- ・各病院の標榜診療科の情報、病床数の情報が含まれている。
- ・随時、情報が更新されている。
- ・抽出作業に適した形（電子データ）で利用できる。

なお、大学医学部（医科大学）附属病院については、診療科名と実際の診療内容が必ずしも一致しない（例：診療科名が「第一内科」、実際の診療内容が「循環器内科」）。そのため、抽出作業に先立って診療科名の整理が必要である。以前は、診療科を細かく把握するために「医育機関名簿」（羊土社）を利用していたが、紙媒体での照合作業となること、1年に1回しか情報が更新されないことが難点である。近年は、各病院のホームページの情報が充実しており、頻繁に更新されているため、ウェブサイトを1つ1つ参照し整理していくことが近道と思われる。

大学病院の診療科情報を整理したデータベースに基づいて、下記の手順により調査対象機関の選定を行う。

- (1) 対象診療科ごとにファイルを作成する。
- (2) 大学医学部（医科大学）附属病院を除く。
- (3) 特別階層の病院（科）を除く。
- (4) 前記で作成したファイルをさらに病床規模（500床以上、400～499床、300～399床、200～299床、100～199床、99床以下）別の6ファイルに分割する。
- (5) 各層ごとの抽出率にしたがい機関を抽出したファイルを作成する。

無作為抽出は統計解析ソフトを使用して行ってもよいが、手作業でも可能である。200～299床の層を例にとると、医療機関が北から順に並んでいるファイル上で無作為に1機関を選び、

そこから5機関ごとに抽出すると、抽出率20%で無作為に選定したこととほぼ同じになる（この場合、正確には「系統抽出」となる）。

発送リストの作成

上記方法で選定された調査対象機関について、発送リストを作成する。宛名は、「〇〇病院 〇〇科 責任者様・ご担当医御侍史」など、調査対象診療科の「責任者」だけに限定しないことが望ましい。これにより、「当科では責任者不在です」などの理由で、未開封・未回答のまま調査票が返送されるといった事例を極力減らすことができる。

発送リストから作成する宛名ラベルは、一次調査送付用、一次調査票（葉書）添付用、二次調査送付用（または再依頼状用）、礼状用、と最低4枚必要である。また一次調査票（葉書）添付用ラベルには、病院名、診療科名のほか、病院番号、病床規模（層）について、事務局で判別できる記号を同時に印字しておく、回収した一次調査票の整理に便利である（「VI. 難病の全国疫学調査の調査書類例」資料11）。

調査書類の作成

全国疫学調査で必要となる書類の例は以下の通りである。これらは、疫学班と臨床班のそれぞれの調査担当者が共同し、双方の班長およびその他の関係者の了解を経て作成するものである。

- (1) 一次調査依頼状（「VI. 難病の全国疫学調査の調査書類例」資料1）
- (2) 一次調査再依頼状（同、資料2）
- (3) 一次調査票（葉書）（同、資料3）
- (4) 礼状（同、資料4）
- (5) 診断基準（同、資料5）
- (6) 二次調査依頼状（同、資料6）
- (7) 二次調査抽出状況調査票（兼）一次調査葉書コピーの貼付用紙（同、資料7）
- (8) 二次調査個人票（同、資料8）
- (9) 対象者番号とカルテ番号の対応表（同、資料9）
- (10) 情報公開文書（同、資料10）

ここでいう診断基準はあくまでも調査用のものであって、個々の患者の治療方法を決めるためのものではない。医師が、自分の診察した患者が本調査の対象に該当するのか否かを迷うことなく決められることが必要である。そのため、教科書によくある「～であることが多い」「～が著しく減少する」「～を示すことがある」などの表現は避け、「上記○項目中○項目を満たすこと」「～の値が○以下」「～の有無は問わない」など、割り切りのよい書き方をする。自覚症状、身体所見、臨床検査所見など、診断に必要な要素とその水準を明確に記述する。除外すべき疾患も列記する。さらに確診例と疑診例の水準を別々に設定することが望ましい。必要があれば、病型、病期、重症度の分類とその基準も記載する。

一次調査票では、該当疾患患者の有無、人数を性別に記載できるようにする。必要に応じて確診・疑診別や亜分類別の記入欄を設ける。施設名や診療科名に加えて、回答に不備があった場合などに照会できるよう、回答者の氏名を記入する欄を設ける。さらに患者数推計にあたって回収率を高めることが重要なので、該当疾患患者がない場合も返送してほしい旨、依頼状だけでなく調査票にも明記する。

本マニュアルで例示した二次調査依頼状（「VI. 難病の全国疫学調査の調査書類例」資料6）の文面は、一次調査の報告患者から何例かを抽出し、二次調査個人票への記入を依頼する場合のものである。全国疫学調査では、通常、一次調査で報告された全例について二次調査個人票への記入を依頼するが、目的に応じてこのような形式での依頼も可能である。なお、一次調査から二次調査に移る段階で症例の抽出を行う場合は、抽出状況調査票（同、資料7）を添えるとよい。また、抽出の有無にかかわらず、一次調査で実際に返送された葉書のコピーも添えると（同、資料7）、受け取る側が回答しやすくなる。

二次調査個人票は、個人情報の保護に留意しながら詳細な患者情報を得られるように作成する必要がある。多数の診療科を対象とする場合は、患者数推計のための重複率の算出が重要になるため、性、生年月だけでなく、生年月日の「日」や、氏名のイニシャル記入も求めることがある。そのような場合は、倫理審査で相応の理由を示し、承認を受けることが必要である。発病年、受療状況、医療費の公費負担状況など各疾患に共通する項目のほか、臨床班の知りたい項目も加えて、A3 ないし A4 版 1 枚程度とする。記入量が多くなると回収率が減少することが懸念されるので、質問項目は厳選する。この作業は疫学班と臨床班が十分協議して進める。

倫理面の手続き

全国疫学調査では個人由来の情報を収集するので、倫理面の配慮が重要である。要諦は、研究プロトコルの作成、インフォームド・コンセント、個人情報の保護、および倫理委員会の審査である。倫理委員会の審査は、臨床班の研究代表者所属施設と、疫学班の担当者所属施設の双方で申請する。

なお、本マニュアル発行時点（2017年1月）で、遵守すべき倫理指針は「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」（文部科学省・厚生労働省、以下「医学系研究倫理指針」）である。したがって、以下の手続きも当該指針に沿ったものである。

1) 研究プロトコルの作成

調査に当たって研究計画書を作成する。計画書には、調査の目的、情報収集の方法、解析の方法、個人情報の保護の方法、研究組織、などを記載する。

2) 一次調査

一次調査は個人単位の調査ではなく、診療科単位で集計値を収集するのみである。したがって、患者からのインフォームド・コンセント取得は必ずしも要しない。

3) 二次調査

二次調査の研究としての分類は、「既存情報のみを用いる」「観察研究」である（介入なし、侵襲なし、人体試料不使用）。また、連結可能匿名化を行うことから、対象患者の氏名やその他の個人を容易に同定できる情報が含まれないので、個人情報保護法上の個人情報には該当しない。

- (1) 既存情報のみを用いる観察研究のため、患者からのインフォームド・コンセント取得は必ずしも要しない。むしろ、インフォームド・コンセントを必須とすることで、過去に遡って調査対象者から等しく同意を得ることができなくなり、また一部症例が選択的に脱落することから、悉皆性が重要な全国疫学調査の妥当性を低下させる恐れがある。
- (2) 他機関に対して既存情報の提供を依頼するが、連結可能匿名化を行うため、各施設での倫理審査は必ずしも要しない。なお、医学系研究倫理指針によると、「既存情報の提供を行う者が所属する機関の長がその内容を把握できるようにすること」とされている。したがって、二次調査の依頼文で各施設にその必要性を通知するとともに、問い合わせがあった場合は適切に対応する。
- (3) 調査に関する情報の通知又は公開を行い、拒否の機会を保障する場合は、対象者がアクセスしやすいウェブサイトなどで調査に関する情報公開を行う。
- (4) 個々の患者に関する情報は匿名化して収集し、対応表はそれぞれの医療機関に残して研究者には送付しない。なお、対応表の保存期間をあらかじめ示し、保存期限が過ぎたら復元不可能な形で廃棄してもらう旨を伝えておく。
- (5) 後述する予後調査を行う予定がある場合は、あらかじめそのことを対象医療機関に予告し、研究プロトコールにも記載する。

4) データの保管および移動

調査票には原則として個人が同定できる情報が記載されないとはいえ、解析時に照合する必要もあることから、その保管は厳重かつ丁寧に行う。解析のために他施設に送付する場合は、資料に通し番号をつけるとともに、送付・受領の確認を必ず行う。調査結果発表後しばらくは問い合わせに対応する必要があるため、資料を直ちに廃棄することはしないで一定期間保存する。ただし保存期限に関する決まりはない。

なお、2017年に、改正個人情報保護法にあわせて、医学系研究倫理指針も改正されることとなっている。改正後は、新指針を遵守すべきことを申し添える。

調査書類の発送

以上の準備が整ったら、一次調査、二次調査を以下の手順で実施する。

1) 一次調査

発送用封筒に宛名ラベルを貼る。一次調査依頼状、診断基準、一次調査票（葉書、ラベル添付）を入れて発送する。

2) 一次調査の再依頼

返送期限までに一次調査票が返送されない診療科に対して再度依頼を行う。手順は一次調査発送と同様で、依頼状や診断基準も再度送付する。一次調査票が返送された診療科は、二次調査票あるいは礼状を送付するためすでにラベルを使用しているため、ラベルが残っている診療科宛に送ればよい。

3) 二次調査および礼状

一次調査で「該当患者なし」と報告された診療科には礼状（葉書）を、「該当患者あり」と報告された診療科には、報告患者数に若干数を加えた枚数の二次調査票を、二次調査依頼状、診断基準、一次調査葉書のコピー、対象者番号とカルテ番号の対応表、返信用切手付封筒（返信先印刷済み）を同封の上、逐次送付する。返信用封筒の裏に、病院番号、診療科名を記入しておくこと返送されたときの整理に便利である。なお二次調査票が記入返送されてきた診療科には、礼状を送付する。

一次調査の集計

返送されてきた一次調査票は、診療科・層ごとに、患者あり・なしで分けて整理する。記入された情報をコンピュータに入力する際は、調査対象機関を選定した際の診療科・層別ファイルを利用すればよい。ファイルには返送の有無、性別（男・女のほかに不明も必要）の患者数が入力できるようにしておく。一次調査票が返送される都度、対応する診療科・層のファイルで病院番号を検索し情報を入力する。回収された調査票数、報告患者数をそれぞれのファイル内で集計する。一次調査の時点で該当する科がないと返送されてきた場合は、最終集計時点で対象科数を減らすことで対応している。

なお、調査対象診療科に該当患者がいないために、対象外の診療科に書類が回され、転送された葉書が返送されることがある。このような場合の取り扱いも一定のルールで決めておくこと良い。

患者数の推計

上記一次調査集計結果を用いて本マニュアル別項の推計方法に基づき、患者数を推計する。その際、二次調査のデータから、重複がわかる場合は重複率（同一患者が複数の診療科から報告される割合）、不適格率（受療期間や診断が不相当である割合）を求め、それを用いて修正する。

二次調査の集計

二次調査票は返送された時点で、各々の個人票に病院番号、診療科番号、通し番号を記入することが望ましい。得られた情報はコンピュータに入力し利用するが、原票に戻る必要が

生じることもよくあるからである。また個人票、コンピュータ入力済みデータとも複写を作成して臨床班と疫学班で共有することもあり、その場合に互いに連絡をとるためにも通し番号は必要である。二次調査票に記入不備がある場合は、できるだけ記入者に問い合わせを行い、せっかくの報告例が解析から外れることのないようにする。

二次調査票に記入された情報はコンピュータに入力する。そのためにも自由記入はできるだけ避け、選択方式を採用することが望ましい。後からコーディングすることも可能であるが、非常に労力を要する。入力したデータを用いて、前記重複率（性、生年月などでソートし、同一の場合はその他の情報を確認する）および不適格率を算出するほか、受療患者の特性を検討する。

集計の際は、重複症例の情報を 1 症例の情報としてまとめる必要があるが、決められた取り扱い方針はない。対象とする疾患の特徴を踏まえ、臨床班で一定のルールを設けるのが現実的である。「最終受診日がより遅い日付の者の情報を採用する」「項目ごとに、より重症な数値を採用する」といった考え方もあろう。いずれにしても、矛盾のないように統合することが重要である。

結果の公表

調査は難病の疫学班と臨床班が共同で行うものであるから、公表も共同で行うことになる。両班で同じ資料を共有するので、互いに連絡をとりながら集計解析を行えばよいが、現実にはどちらかが主体的・積極的に取り組むことになる。多くの場合、患者頻度の推計（一次調査）については疫学班が主体となって行い、結果を両班で報告し、二次調査については、疫学班が主に人口学的項目と受療・医療費に関する項目を、臨床班が臨床的項目を中心に集計し、両者を併せて両班で報告する形をとっている。多数の医療機関の多大な労力と調査費用をかけて行うものであるから、班報告にとどまらず、できるだけ多くの機会を利用して結果を公表することが望まれる。

調査費用

従来、調査事務局は疫学班の研究代表者あるいは研究分担者の所属施設内に置いていたため、調査にかかる人件費を臨床班が負担することはなかった。しかし、業務量の多さや内容の煩雑さから、2011 年度以降は、調査事務局業務の多くを外部委託し、疫学班と臨床班が適宜監督する形をとっている。委託費用の内訳は、主に人件費（データマネジメント、データ入力）、郵送費、印刷費である。費用総額は、対象とする疾患で想定される全国患者数、対象とする診療科数に大きく影響されるので一概には言えない。調査費用は、原則、臨床班が負担することとしている。費用節減のために、抽出率を低くして調査対象機関数を少なくするという方法もあるが、患者数の推計精度が低くなる（信頼区間が広がる）ことを踏まえ、慎重に判断すべきである。

調査結果の利用

全国疫学調査は元来難病行政の基礎資料の作成を目的としたものであるので、厚生労働省の政策立案と評価に用いられるのは当然であるが、多大な負担がかかる臨床医の回答意欲を維持するためにも臨床現場で活用できることが重要である。その第一は、二次調査で報告される難病患者の臨床像から、一医師や一医療機関では把握しきれない難病の臨床像の多様性（スペクトル）が描かれることである。第二に、新しい臨床検査の所見や治療の試みなど、今後の難病医療を考えるヒントが示されることである。そのためにも、二次調査には先駆的な知見を記載する欄が必要となろう。

予後調査への展開

全国疫学調査で把握された患者集団を追跡して転帰を調べる一種のコホート研究（予後調査）が従来から行われてきた。これは臨床家にとって関心が高く、また一般に患者数が少ない難病においては、この方法に依らなければ一般的な予後あるいは要因別の予後は知ることができず、貴重な調査研究となる。

予後調査を行うためには以下の準備をする。

- (1) あらかじめ予後調査の基本計画を立てておく。
- (2) 全国疫学調査時に対象医療機関に予告する。
- (3) 対象医療機関で対象者リスト（対応表）を保管してもらう。
- (4) 連結可能匿名化し、研究者は対応表を持たない。
- (5) 予後調査の研究プロトコールを作成し、できるだけ早い時期に倫理委員会の審査を受ける。
- (6) 追跡に当たって患者の同意を得るようにすれば、診療録に記載された事項のみでなく新たに情報を収集することも可能。

なお、予後調査そのものはコホート研究の方法論に則って行われるので、本マニュアルでは詳述しない。

IV. 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おいて、1990年頃に、様々な課題の検討を経て、標準的な調査方法と患者数の推計方法が確立された^{1,2)}。標準的な方法を用いて、多くの難病を対象とする全国疫学調査が実施され、患者数と患者特性が明らかにされている³⁾。2011～2015年度に、全国疫学調査が対象とする難病の変化を考慮して、方法の全面的な点検・評価・検討が行われ、標準的な方法の適切性が再確認されている。

ここでは、標準的な患者数の推計方法を解説する^{4,5)}。例として、標準的な調査方法で得たデータを取り上げる。多少変更した調査方法で得たデータに対しても、本推計方法はほとんど変わりにくく適用できるが、違いがあれば注意する。

患者数推計の枠組みと仮定

1) データの形式

難病の全国疫学調査の標準的な調査方法では、全病院の難病関連の診療科が対象であり、診療科単位に調査される。たとえば、1993年度に実施された胎児性水頭症の全国疫学調査を例にしよう。表4-1にその調査と回収の状況を示す。対象施設は全病院の小児科、産婦人科と脳神経外科で、合計8,768施設である。調査する施設（以下、調査施設と呼ぶ）は、対象施設の中から層別に無作為抽出（あるいは全数調査）する。（調査施設数）／（対象施設数）を抽出率と呼ぶ。例では、調査施設数は合計2,340で、抽出率は26.7%である。診療科、病院の種類と病床数で層別され、抽出率は層で5～100%と異なる。

調査によって、調査施設の調査票回収の有無、および、回収された調査施設（回収施設と呼ぶ）の患者数が得られる。（回収施設数）／（調査施設数）を回収率と呼ぶ。例では、回収施設数は合計1,794で、回収率は76.7%である。回収率は層で大きく異なる。患者数の点推定に必要なデータは、層ごとの対象施設数、調査施設数、回収施設数と報告患者数である。患者数の区間推定には、さらに報告患者数別の回収施設数が必要となる。表4-1に例のデータを示している（報告患者数別の回収施設数の一部を省略）。

2) 患者数推計の枠組み⁴⁾

全国疫学調査では、推計対象とする患者数は、厳密に言えば、定めた期間内に対象施設で診療を受けた対象難病患者数である。たとえば、1993年に実施された胎児性水頭症の全国疫学調査では、1992年4月1日～1993年3月31日に、全病院の小児科、産婦人科、脳神経外科で診療を受けた患者数が推計対象であり、これには診療所や病院の他の診療科で診療を受けた患者は含まれない。本来、すべての患者数（医療施設で診療を受けていない者を含む）の把握が望ましいが、治療割合に関する情報がなければ、そのような患者数を推計することはでき

表 4-1 患者数推計用のデータ形式：1993 年度の胎児性水頭症の全国疫学調査

層	施設数				報告患者数	報告患者数別回収施設数					
	対象	調査 ^{#1}	回収 ^{#2}			0	1	2	・・・	63	
小児科	大学病院	121	121 (100.0)	101 (83.5)	57	72	14	10	・・・	0	
	500床以上	193	193 (100.0)	150 (77.7)	43	123	18	6	・・・	0	
	400～499床	183	148 (80.9)	126 (85.1)	7	121	3	2	・・・	0	
	300～399床	363	144 (39.7)	115 (79.9)	10	108	5	1	・・・	0	
	200～299床	595	118 (19.8)	84 (71.2)	2	83	0	1	・・・	0	
	100～199床	1,090	104 (9.5)	70 (67.3)	11	66	2	0	・・・	0	
	99床以下	1,611	78 (4.8)	35 (44.9)	0	35	0	0	・・・	0	
	特別階層	21	21 (100.0)	16 (76.2)	6	14	1	0	・・・	0	
小計	4,177	927 (22.2)	697 (75.2)	136	622	43	20	・・・	0		
産婦人科	大学病院	118	118 (100.0)	104 (88.1)	76	65	23	11	・・・	0	
	500床以上	186	186 (100.0)	145 (78.0)	45	117	20	6	・・・	0	
	400～499床	170	138 (81.2)	110 (79.7)	9	101	9	0	・・・	0	
	300～399床	317	127 (40.1)	94 (74.0)	19	82	10	1	・・・	0	
	200～299床	405	82 (20.2)	67 (81.7)	5	63	3	1	・・・	0	
	100～199床	490	48 (9.8)	34 (70.8)	2	32	2	0	・・・	0	
	99床以下	768	38 (4.9)	21 (55.3)	1	20	1	0	・・・	0	
	特別階層	6	6 (100.0)	3 (50.0)	1	2	1	0	・・・	0	
小計	2,460	743 (30.2)	578 (77.8)	158	482	69	19	・・・	0		
脳神経外科	大学病院	103	103 (100.0)	93 (90.3)	110	62	9	6	・・・	0	
	500床以上	179	179 (100.0)	142 (79.3)	26	127	9	5	・・・	0	
	400～499床	153	123 (80.4)	89 (72.4)	5	85	3	1	・・・	0	
	300～399床	266	106 (39.8)	84 (79.2)	0	84	0	0	・・・	0	
	200～299床	351	70 (19.9)	53 (75.7)	5	51	0	1	・・・	0	
	100～199床	530	52 (9.8)	31 (59.6)	0	31	0	0	・・・	0	
	99床以下	537	25 (4.7)	17 (68.0)	0	17	0	0	・・・	0	
	特別階層	12	12 (100.0)	8 (66.7)	89	1	0	2	・・・	1	
小計	2,131	670 (31.4)	517 (77.2)	235	458	21	15	・・・	1		
計	8,768	2,340 (26.7)	1,794 (76.7)	529	1,562	133	54	・・・	1		

#1：（ ）は抽出率（％）。 #2：（ ）は回収率（％）。

ない。なお、多くの難病では未治療の者はごくわずかであり、また、診断や治療の専門性からみて、ある程度規模の大きい病院で受療している患者が多いとみられる。この詳細は次章で議論する。

調査対象は過去（通常、最近の1年間）の患者数である。ある1つの医療施設で診療を受けた難病患者数は既に定まっており、変動しない。報告された患者数に誤りが無いとは限らないが、患者数の推計上それを考慮することはできない。患者数の推計上は、仮に対象施設のすべてから回収率100%で患者数が報告されれば、その合計した患者数を真の患者数とみなすことになる。

既に述べた通り、対象施設から抽出された一部の施設（調査施設）のみについて患者数を調査するが、調査施設を無作為に抽出することから、患者数の推計としては、標本データから全体の患者数を求めるという最も単純な問題に過ぎない。無作為抽出では、調査施設の1施設当たりの平均患者数は対象施設全体のそれに一致すると期待できるので、調査施設の報告

患者数の合計を抽出率で割れば、全体の患者数が推計できる。

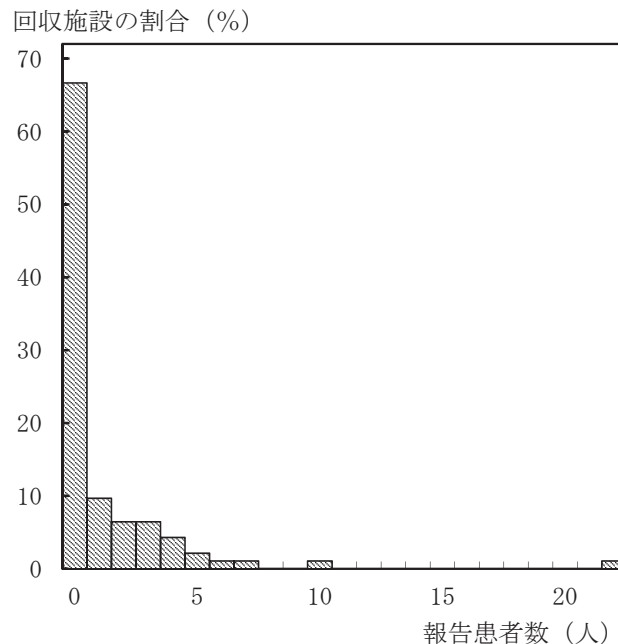
一方、全国疫学調査では、通常、回収率が60%程度である。この程度の回収率では、回収施設から報告された患者数の合計を、調査施設全体の患者数とみることにはできず、調査施設の中の未回収施設の患者数を推計する必要がある。いま、回収施設的全報告患者数を回収率で除して調査施設全体の患者数を推計するという方法を考えよう。一般に、未回収施設の1施設当たりの平均患者数が回収施設のそれに一致するとは限らない。仮に、患者数の少ない施設ほど回収されにくい傾向（回収の偏り）があったとすると、このような方法で推計した患者数は、未回収施設の1施設当たりの平均患者数に対してより大きい回収施設の値を仮定することになるゆえ、過大推計になる。しかしながら、未回収施設の1施設当たりの平均患者数が回収施設のそれよりどの程度小さい、という具体的情報がない限り、この回収の偏りを考慮して患者数を推計することはできない。すなわち、回収の偏りがないという仮定の下で患者数を推計するほかはない。

3) 患者数推計の仮定⁵⁾

患者数の推計にあたって、回収の有無と患者頻度が独立（無作為回収と呼ぶ）という仮定をおくことにする。無作為回収は、實際上、回収施設と未回収施設の間で患者頻度が等しいこと（回収の偏りなし）と同一視してよからう。回収の偏りなしは前述の通り仮定せざるを得ないものであり、無批判に受け入れてよいわけではないが、次章で議論するように、標準的な調査方法に基づくデータへの適用にはおおよそ妥当性があると示唆されている。無作為回収の下では、調査施設から無作為に回収施設が選定されたとみなすことができる。調査施設は実際に対象施設から無作為に選定されていることから、患者数推計としては、対象施設全体から回収施設が無作為に選定されたとみなすことになる。

図4-1に、胎児性水頭症の全国疫学調査から得られた報告患者数別の回収施設の分布を、例として大学病院の脳神経外科について示した。回収施設数93の中で患者数0が67%と多い。患者数1人が10%、患者数2人が6%と、患者数の増大とともに施設数が減少しており、最も多い施設の患者数は22人である。この分布は対象施設全体のものでないが、対象施設全体の分布もおおよそこのような分布型をしていると推察される。ここから無作為に施設を選定すると、標本抽出変動が生まれ、そのため患者数の95%信頼区間の算定という問題が生ずる。なお、分布のばらつきが小さければ標本抽出変動は小さく、信頼幅が狭くなり、逆に、分布のばらつきが大きければ信頼幅は広くなる。

図4-1 報告患者数別の回収施設数の分布：
1993年度の胎児性水頭症の全国疫学調査、大学病院の脳神経外科



患者数の推定方法

1) 患者数の点推定⁴⁾

1施設当たりの平均患者数は、医療施設の規模や診療科でかなり異なると推察される。そこで、全国疫学調査では、対象施設を病院の規模や診療科で層別にし、層ごとに抽出率を変えて、調査施設を抽出する。それゆえ、患者数の推計も層ごとに行うことになる。無作為回収の仮定の下では、推計患者数は下式で与えられる。層別の推計患者数を下式で求め、それを合計すれば全体の推計患者数が得られる。

$$\text{推計患者数} = \frac{\text{報告患者数}}{\text{抽出率} \times \text{回収率}} = \frac{\text{報告患者数}}{\text{回収施設数} / \text{対象施設数}}$$

たとえば、表4-1の300～399床の産婦人科をみると、対象施設数317、調査施設数127、回収施設数94、報告患者数は19人であり、回収施設の1施設当たりの平均患者数は $19/94=0.2$ 人となる。まず、調査施設の推計患者数を求めよう。無作為回収の前提の下では、調査施設の中の未回収施設の1施設当たりの平均患者数は、回収施設のそれ0.2人で与えることができる。未回収施設の患者数は $0.2 \times (127 - 94) = 6.6$ 人となり、回収施設の患者数19人を加えると、調査施設の患者数は $6.6 + 19 = 25.6$ 人と計算される。この計算を1つの式にまとめると、(調査施設の推計患者数) = (報告患者数) / (回収率) となる。次いで、対象施設の推計患者数を求めよう。調査施設は対象施設から無作為に抽出されたものゆえ、非調査施設の1施設当たりの平均患者数も、調査施設のそれと同じ値 (0.2人) で与えられる。非調査施設の患者数は $0.2 \times (317 - 127) = 38.0$ となり、調査施設の患者数25.6を加えると、対象施設の患者数は $38.0 + 25.6 = 63.6$ 人と計算される。この計算を1つの式にまとめると、(推計患者数) = (調査施設の推計患者数) / (抽出率) と

なる。上の2つの操作をまとめると、先の計算式が得られる。実際、例でも、報告患者数19、回収施設数94、対象施設数317より、(推計患者数) = $19 / (94 / 317) = 63.6$ と一致する。

胎児性水頭症の全国疫学調査における層ごとの推計患者数を、表4-2の第1列(残りの算定法は後述)に示す。層別推計患者数を合計して、全体の推計患者数を求めると、1,008人となる。なお、推計患者数の表示にあたっては、有効数字を考慮することが重要である。この点は次の節で注意する。

表4-2 患者数の推計結果：1993年度の胎児性水頭症の全国疫学調査

	層	推計患者数	標準誤差	患者数の95%信頼区間	
小児科	大学病院	68	6	57	80
	500床以上	55	6	44	67
	400～499床	10	3	5	15
	300～399床	32	11	10	53
	200～299床	14	13	-11	40
	100～199床	171	97	-18	361
	99床以下	0			
	特別階層	8	3	2	14
	小計	359	99	165	552
産婦人科	大学病院	86	6	75	98
	500床以上	58	7	44	71
	400～499床	14	3	9	19
	300～399床	64	22	21	107
	200～299床	30	14	2	58
	100～199床	29	19	-9	66
	99床以下	37	35	-32	106
	特別階層	2	1	0	4
	小計	320	49	224	415
脳神経外科	大学病院	122	9	103	140
	500床以上	33	5	23	42
	400～499床	9	3	3	14
	300～399床	0			
	200～299床	33	22	-9	76
	100～199床	0			
	99床以下	0			
	特別階層	134	51	34	233
	小計	330	56	220	440
	計	1,008	124	766	1,250

2) 患者数の区間推定⁵⁾

患者数の95%信頼区間の計算法は、点推定値のそれよりも煩雑である。まず、層ごとの計算法を示し、後で層の合計の仕方を示す。

対象施設数を n 、患者数 i ($i = 0, 1, \dots$) の対象施設数を n_i とおき、回収施設数を N 、患者数 i 人の回収施設数を N_i とおく。 n は既知の定数であり、 $\{n_i\}$ は未知の定数である。 N と $\{N_i\}$ が調査から得られる。無作為回収の仮定および N を固定した条件の下で、 $\{N_i\}$ は多項超

幾何分布に従うことが知られている。真の患者数 α は上記の記号を用いると、 $\alpha = \sum i \cdot n_i$ と表すことができる。ここで、 \sum は i について、1から順に、最大報告患者数まで和を取ることを表す（以下、同様）。 α が未知のパラメータであり、その推定値 $\hat{\alpha}$ は下式で与えることができる。

$$\hat{\alpha} = \frac{\sum i \cdot N_i}{N/n}$$

なお、分子は報告患者数であり、この式は前述の患者数の点推定値を与える式を、記号で表現したものにはほかならない。

患者数の95%信頼区間は、近似的に下式で与えられる。

$$(\hat{\alpha} - 1.96 \cdot s, \hat{\alpha} + 1.96 \cdot s)$$

$$s = \sqrt{\frac{\sum i^2 \cdot N_i / N - (\sum i \cdot N_i / N)^2}{n - 1} \cdot n^3 (1/N - 1/n)}$$

ここで、 s は $\hat{\alpha}$ の標準誤差の推定量である。

層ごとの推計患者数と標準誤差から、層を合計した患者数の95%信頼区間の計算法を示す。層数 k として、層ごとの推計患者数を $\hat{\alpha}_1, \hat{\alpha}_2, \dots, \hat{\alpha}_k$ 、その標準誤差を s_1, s_2, \dots, s_k とおく。層を合計した推計患者数は、 $\hat{\alpha} = \hat{\alpha}_1 + \hat{\alpha}_2 + \dots + \hat{\alpha}_k$ で与えられ、近似的な95%信頼区間は下式で与えられる。

$$(\hat{\alpha} - 1.96 \cdot s, \hat{\alpha} + 1.96 \cdot s)$$

$$s = \sqrt{s_1^2 + s_2^2 + \dots + s_k^2}$$

ここで、 s は $\hat{\alpha}$ の標準誤差の推定量である。

胎児性水頭症患者数の95%信頼区間を表4-2に示した。層別の推計患者数とその標準誤差から、上記の方法により全体の患者数の95%信頼区間を求めると、766~1,250人と計算される。この信頼区間の幅は、患者数把握というねらいからは十分に有用と思われる。区間幅について、ある程度広くなるのは当然であるが、この調査の回収率の高さ（全体で76.7%）を考慮すると、やや広すぎるように思われる。これは、小児科の100~199床の病院と脳神経外科の特別階層病院の標準誤差が大きいためである。小児科の100~199床の病院で標準誤差が大きいのは、抽出率が高くないにも関わらず（200床未満の病院は患者数が少ないとの想定による）、いくつかの施設から幾分多い患者数が報告されたからである。脳神経外科の特別階層病院については、一部の施設からきわめて多い患者数が報告されており、一方、回収率が必ずしも高くないからである（特定階層病院は患者数が多いとの想定により抽出率は100%）。

患者数の推計値と95%信頼区間を表示する際には、有効数字を考慮して、ある程度まるめることが勧められる。目安としては、おおよそ、推計患者数が1,000未満のとき10の位まで、1,000以上のとき100の位までとする。胎児性水頭症では、推計患者数と95%信頼区間は1,010人と770~1,250人、あるいは、1,000人と800~1,300人である。層別患者数については、通常、

推計の対象でなく精度も低いことから、それを示す意義は小さい。また、95%信頼下限については、計算の近似が悪いために負の値になることがある。その場合、近似しない直接計算法の使用が望ましいが、実質的には95%信頼下限を0としておけばよからう。

文献

- 1) Ohno Y, Suzuki S, Tamakoshi A, et al. Nationwide epidemiological survey for estimating annual number of patients treated for intractable diseases in Japan: its significance and methodology. In: Recent Progress of Epidemiologic Study of Intractable Diseases in Japan (ed. Yanagawa H, Sasaki R, Nagai M, et al.). The Epidemiology of Intractable Diseases Research Committee, 1992:9-14.
- 2) Hashimoto S, Fukutomi K, Sasaki R, et al. Methodological issues in nationwide epidemiological survey for estimating annual number of patients treated for intractable diseases. In: Recent Progress of Epidemiologic Study of Intractable Diseases in Japan (ed. Yanagawa H, Sasaki R, Nagai M, et al.). The Epidemiology of Intractable Diseases Research Committee, 1992:15-22.
- 3) 玉腰暁子, 大野良之, 佐々木隆一郎, 他. 全国疫学調査による難病受療患者数の推計—柳川班5年間(1988~1992年度)の成績—。日本医事新報, 1993;3601:49-52.
- 4) 橋本修二, 福富和夫, 永井正規, 他. 難病の全国疫学調査に基づく患者数の推計方法に関する一考察。日本公衆衛生雑誌, 1990;37(9):768-74.
- 5) 橋本修二, 福富和夫, 永井正規, 他. 難病の全国疫学調査に基づく患者数の区間推定。日本公衆衛生雑誌, 1991;38(11):880-3.

V. 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に係わる統計的課題は、調査方法と患者数の推計方法に大別される。それぞれの課題ごとに、2011～2015年度に実施された点検・評価・検討の結果を紹介する。

調査方法の課題

調査方法の課題として、対象施設の範囲、調査施設の抽出、特別階層の設定などがある。議論のため、基礎資料として、1988年度の特定疾患医療受給者調査による30疾患の受給者数データ（過去の資料；表5-1）、および、2006～2009年度に実施された5つの全国疫学調査による8疾患の患者数データ（最近の資料；表5-2）を用いる¹⁻³⁾。いずれの全国疫学調査も標準的な調査方法を用いている。

1) 対象施設の範囲⁴⁾

全国疫学調査の標準的な調査方法では、全病院の難病関連診療科を対象施設とする。診療所や調査対象外の診療科で受療している難病患者は、全国疫学調査で捕捉されず、その分だけ、推計患者数が過小評価となる。表5-1に、1988年度の特定疾患医療受給者調査による全医療施設と全病院の受給者数を示す。全病院の受給者の割合は30疾患合計で91%である。疾患ごとにみると、90%以上が23疾患、80～89%が5疾患であり、70～79%はスモンと悪性関節リウマチの2疾患である。なお、診療科を限定すれば患者捕捉率は低下するが、全国疫学調査では難病ごとに関連診療科すべてを対象施設にしているゆえ、患者捕捉率の低下程度はそれほど大きくないと思われる。以上、患者捕捉率からみると、特定疾患医療給付の対象疾患のほとんどでは、全病院を対象施設とすればよく、また、それに基づく推計患者数が全医療施設の患者数に十分に近いとみてよい。ただ、患者捕捉率については、医療の専門性に強く依存するゆえ、診断や治療がより一般的な難病では低くなる可能性に注意を要する。

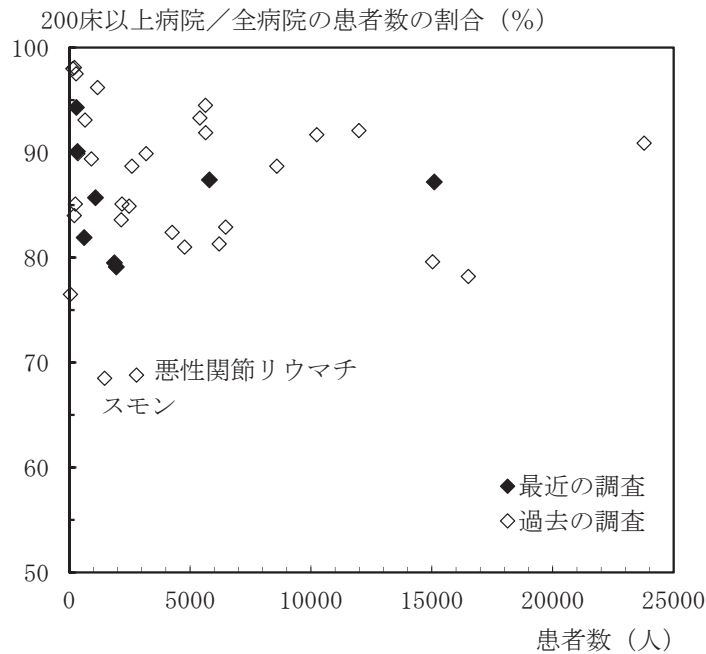
調査施設数を減らすために、対象施設の範囲を限定することが考えられる。たとえば、対象施設の範囲を全病院から200床以上病院（大学と特別階層を含む）に限定すると、最近の5つの全国疫学調査の平均で、対象施設数は37%に減少し、一方、調査施設数は81%の減少に止まる。標準的な調査方法では、調査施設の抽出率が200床以上病院で高く、それ未満で低いためである。調査の患者捕捉率の変化について、図5-1のように、 $(200床以上病院の患者数) / (全病院の患者数)$ の割合は、最近の全国疫学調査による8疾患の平均で86%、過去の受給者調査による30疾患の平均で87%に低下する。以上からみると、難病の中でも医療の専門性がとくに高い疾患を除くと、対象施設の範囲として、全病院から200床以上病院への縮小はあまり有効でないと思われる。

表5-1 医療受給者数：1988年度の特定疾患医療受給者調査

疾病名	医療受給者数		
	全医療施設	全病院	
1 ベーチェット病	10,152	8,584	(84.6)
2 多発性硬化症	2,708	2,595	(95.8)
3 重症筋無力症	5,989	5,635	(94.1)
4 全身性エリテマトーデス	25,264	23,775	(94.1)
5 スモン	1,960	1,465	(74.7)
6 再生不良性貧血	5,875	5,643	(96.1)
7 サルコイドーシス	5,839	5,403	(92.5)
8 筋萎縮性側索硬化症	2,281	2,153	(94.4)
9 強皮症・皮膚筋炎及び多発性筋炎	10,937	10,238	(93.6)
10 特発性血小板減少性紫斑病	12,417	11,983	(96.5)
11 結節性動脈周囲炎	977	918	(94.0)
12 潰瘍性大腸炎	16,794	15,025	(89.5)
13 大動脈炎症候群	3,506	3,181	(90.7)
14 ビュルガー病	6,987	6,202	(88.8)
15 天疱瘡	1,265	1,173	(92.7)
16 脊髄小脳変性症	7,068	6,470	(91.5)
17 クローン病	4,500	4,257	(94.6)
18 難治性の肝炎のうち劇症肝炎	665	655	(98.5)
19 悪性関節リウマチ	3,686	2,784	(75.5)
20 パーキンソン病	19,244	16,504	(85.8)
21 アミロイドーシス	375	356	(94.9)
22 後縦靭帯骨化症	5,243	4,773	(91.0)
23 ハンチントン舞踏病	271	255	(94.1)
24 ウィリス動脈輪閉塞症	2,548	2,477	(97.2)
25 ウェゲナー肉芽腫症	294	285	(96.9)
26 特発性拡張型（うっ血型）心筋症	2,371	2,184	(92.1)
27 シャイ・ドレーガー症候群	227	212	(93.4)
28 表皮水疱症	165	152	(92.1)
29 膿疱性乾癬	247	216	(87.4)
30 広範脊柱管狭窄症	55	51	(92.7)
計	159,910	145,604	(91.1)

() 内は全医療施設の医療受給者数に対する割合 (%)

図5-1 200床以上病院／全病院の患者数の割合：
1988年度の特定疾患医療受給者調査、2006～2009年度の難病の全国疫学調査



2) 調査施設の抽出⁴⁾

全国疫学調査の標準的な調査方法では、調査施設は対象施設から層別に無作為抽出する。層としては、診療科ごとに、一般病院（～99床、100～、200～、300～、400～、500～）、大学病院と特定階層病院であり、それぞれの抽出率（標準の抽出率）は5、10、20、40、80、100、100と100%である。表5-2をみると、5つの全国疫学調査では、診療科数が3～9、対象施設数が8千～2万余り、調査施設が2,251～6,345施設、抽出率が24～32%である。

表5-2 対象施設と調査施設：2006～2009年度の難病の全国疫学調査

全国疫学調査	実施年度	対象施設			調査施設	
		範囲	診療科数	施設数	施設数	抽出率 (%)
重症筋無力症	2006	全病院	9	20,944	5,426	25.9
神経線維腫症1など	2006	全病院	9	20,690	6,345	30.7
自己免疫性視床下部下垂体炎など	2007	全病院	3	11,134	2,625	23.6
アレルギー性肉芽腫性血管炎	2008	全病院	3	8,084	2,599	32.1
家族性地中海熱	2009	全病院	3	9,352	2,251	24.1

調査施設の抽出の課題として、抽出総数とその層への配分がある。まず、層への配分について、過去の受給者データを用いて、抽出総数を固定した上で（調査施設数を2,000施設、抽出率を約20%）、最良の抽出率と標準の抽出率を比較した。最良の抽出率は推計患者数の標準誤差を最小とするもので、各層の患者頻度（調査前には未知）を用いて計算した。図5-2のよ

うに、最良の抽出率と標準の抽出率による推計患者数の標準誤差率の比は、スモンとウイルス動脈輪閉塞症を除く28疾患で1.0～1.2の範囲であった。これより、標準の抽出率は層への最適な配分に近いといえる。

次に、抽出総数について、過去と最近の資料を用いて、標準的な調査方法での調査施設の抽出率による推計患者数の標準誤差率を算定した。図5-3のように、過去の受給者調査による30疾患では、回収率を50%と仮定すると、標準の抽出率による推計患者数の標準誤差率は、患者数1,000人未満の疾患とスモンなどを除いて、10%程度またはそれ未満であった。最近の調査の8疾患では、回収率が60～65%と72%であり、標準の抽出率による推計患者数の標準誤差率は、同様の傾向であった。これより、標準の抽出率がある程度の推定精度（患者数1,000人以上の疾患に対して標準誤差率10%程度）をおおよそ確保するとみなされる。

患者数の推計において、より低い精度を許容する場合、抽出率を標準的な調査方法のそれよりも下げることが考えられる。仮に、各層の抽出率を $1/r$ 倍にすると、推計患者数の標準誤差が \sqrt{r} 倍程度となる（ $r=2$ のとき、推計患者数の標準誤差が1.4倍程度）。ただし、各層の回収施設が過度に少なくならないように、層によっては必要に応じて調査施設を増やすことが大切である。特別階層の抽出率は100%が原則である。また、報告患者数（二次調査の対象患者数に対応）を確保するために、大学病院や規模の大きい病院の抽出率を下げず、それ以外の層の抽出率を下げることも考えられる。

図5-2 最良と標準の抽出率による推計患者数の標準誤差率の比：
1988年度の特定疾患医療受給者調査

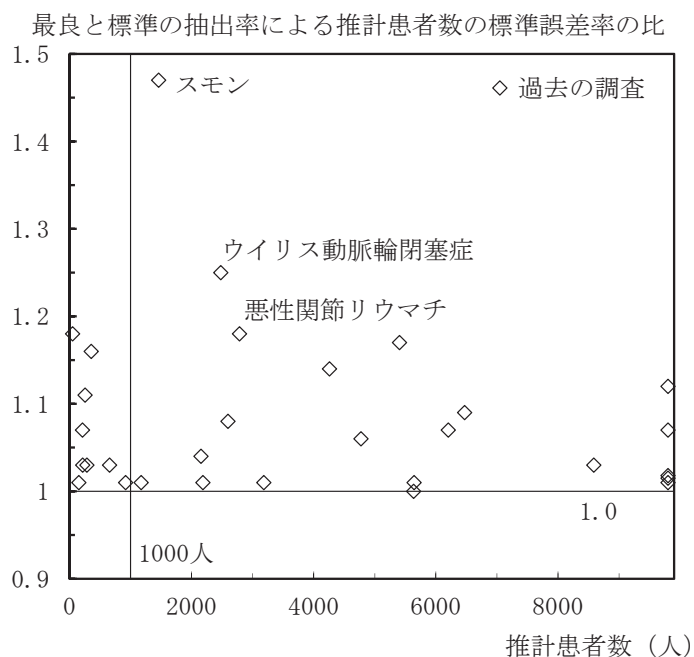
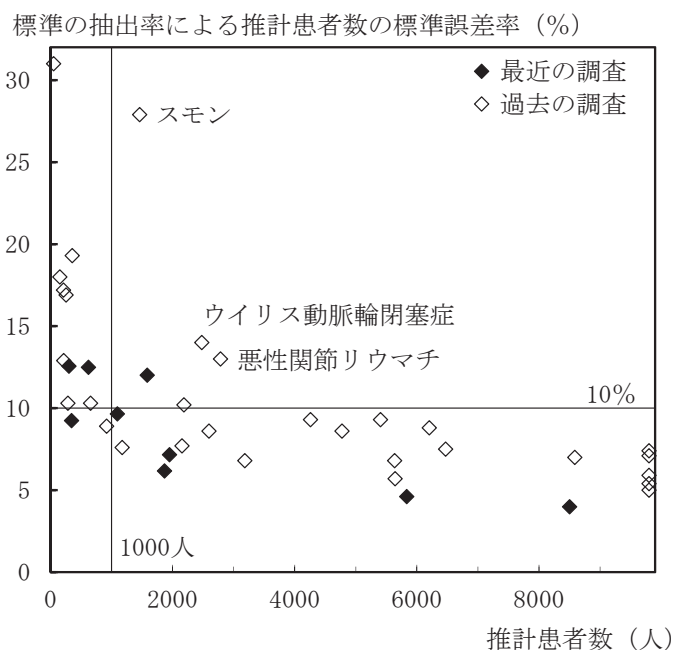


図5-3 標準の抽出率による推計患者数の標準誤差率：
1988年度の特定疾患医療受給者調査、2006～2009年度の難病の全国疫学調査



3) その他

調査方法の他の課題として、特別階層の設定がある。このねらいとして、患者が集中している病院を特別階層とし、一次調査と二次調査で漏らさず回収することを目指している。それによって、各層の患者数分布のばらつきを小さくし、患者数の推定精度を向上させるとともに、二次調査の対象患者数を確保することを想定している。従来、特別階層として、臨床班の班員や関連学会の評議員などの所属する病院を選ぶことが多かった。表5-3に、最近の全国疫学調査における特別階層病院の設定状況を示す。5つの全国疫学調査の中で、特別階層は3調査で調査施設数がきわめて少なく、1調査で比較的多く、また、1調査で設定されなかった。回収率が必ずしも高くないものの、その患者数は多かった。

表5-3 特別階層病院の設定状況：2006～2009年度の難病の全国疫学調査

全国疫学調査	調査施設数 [全体での割合：%]	回収率：% [全体に対する比]	平均報告患者数 [全体に対する比]
重症筋無力症	93 [1.7]	83 [1.1]	5.5 [2.5]
神経線維腫症1など	7 [0.1]	57 [0.9]	18.8 [25.2]
自己免疫性視床下部下垂体炎など	0 [0.0]	-	-
アレルギー性肉芽腫性血管炎	341 [13.1]	72 [1.2]	1.1 [1.8]
家族性地中海熱	57 [2.5]	67 [1.1]	0.7 [5.3]

それ以外の課題として、2段階の調査方式（一次調査と二次調査）、対象診療科、調査対象期間、調査内容がある。ほとんどの難病では、患者ありの施設割合がきわめて低いことから、2段階の調査方式は自然なやり方と思われる。対象診療科は調査対象難病に応じて定めるものである。対象診療科の種類が多いと対象施設数が多くなり、それに伴って調査施設数が増え

るため（表5-2）、調査実施の面から過度に広げないことが大切であろう。調査対象期間を長くすると、対象患者数が増えるものの、報告患者数の正確性が低下することが危惧され、原則として、過去1年間の妥当と思われる。調査内容は調査の目的と対象難病に応じて定めることになるが、調査実施の面からできるだけ絞ることが望ましい。

患者数の推計方法の課題

患者数の推計方法の課題として、患者数推計の枠組みと方法、仮定、有病患者数と罹患患者数の推計、重複報告例と不適格例の対応などがある。患者数推計の枠組みと方法は前章に記載したので、以下、それ以外の課題を議論する。

1) 患者数推計の仮定

患者数の推計方法では、無作為回収（回収の有無と患者頻度が独立）を仮定している。この仮定は、實際上、回収の偏りなし（回収施設と未回収施設の間で患者頻度が等しい）と同一視してよい。回収の偏りなしは前章で議論した通り仮定せざるを得ないものである。無批判に受け入れてよいわけでないが、回収率が60%程度以上であれば、おおよそ妥当と考えてよかろう。以下、回収の偏りに関する2つの検討成績を紹介する^{5,6)}。

(1) 医療受給データに基づく検討⁵⁾

基礎資料としては、昭和59年11月に実施された特発性血小板減少性紫斑病の全国疫学調査資料から得た、200床以上一般病院と大学病院の内科および小児科の回収の有無、並びに、昭和59年度の特定疾患医療費受給者資料から得た、病院ごとの同疾患の医療費受給者数である。表5-4に全国疫学調査の回収状況を示す。対象診療科数は合計3,057、回収率は57.6%である。

表5-4 特発性血小板減少性紫斑病の全国疫学調査の回収状況

	一般病院		大学病院		計
	内科	小児科	内科	小児科	
対象診療科数	1,590	1,091	283	93	3,057
回収診療科数	972	582	141	66	1,761
回収率 (%)	61.1	53.3	49.8	71.0	57.6
報告患者数	1,755	970	774	360	3,859
推計患者数 [≠]	2,900	1,800	1,600	500	6,800

[≠]：推計患者数＝（報告患者数）／（回収率）

表5-5に全国疫学調査の回収状況別の医療費受給者数を示す。内科と小児科を有する一般病院において、両科とも回収の施設の平均受給者数は全体のそれに比べて1.05倍、内科のみ回収では1.04倍、小児科のみ回収では0.93倍、両科とも未回収では0.93倍であり、回収された施設で平均受給者数が多い傾向であった。内科を1～2科と小児科を有する大学病院では、逆に回収された施設で平均受給者数がやや少ない傾向であったが、それを除けばいずれも回収され

た施設で平均受給者数がやや多い傾向であった。とくに受給者総数が多いのは、内科と小児科を有する一般病院4,251人、内科を3～6科と小児科を有する大学病院1,862人であり、ここでは回収された施設の平均受給者数は全体の1～1.1倍程度であった。

回収された施設の受給者頻度は、全体的に未回収の施設のそれに比べてやや多い傾向であった。これは、回収に偏りが無いという仮定の下で、患者数を推計した場合、未回収の診療科の患者頻度を、それよりも幾分多いとみられる回収診療科の患者頻度を当てることになるので、全患者数が過大評価になることを意味する。しかし、その過大となる程度は、回収診療科の平均受給者数の全体のそれに対する比にほぼ当たるので、高々1.1倍程度と考えられる。したがって、患者数推計における回収の偏りなしの仮定がおおよそ妥当であると示唆される。

表5-5 特発性血小板減少性紫斑病の全国疫学調査の回収状況別、医療受給者数

病院の状況	全国疫学調査 回収状況		診療 科数	受給 者数	平均受 給者数	平均受 給者数 比 [#]
	(内科,	小児科)				
一般病院	(回収,	回収)	718	1,473	2.05	1.05
内科と	(回収,	未回収)	604	1,228	2.03	1.04
小児科あり	(未回収,	回収)	440	803	1.83	0.93
	(未回収,	未回収)	412	747	1.81	0.93
	計		2,174	4,251	1.96	1
一般病院	回収		311	114	0.37	1.07
内科のみ	未回収		192	59	0.31	0.89
	計		503	173	0.34	1
一般病院	回収		3	31	10.33	1.33
小児科のみ	未回収		1	0	0.00	0.00
	計		4	31	7.75	1
大学関連病院	(50%以上回収,	回収)	103	599	5.82	1.02
内科(3-6科)	(50%以上回収,	未回収)	54	329	6.09	1.07
と小児科	(50%未満回収,	回収)	115	583	5.07	0.89
	(50%未満回収,	未回収)	54	351	6.50	1.14
	計		326	1,862	5.71	1
大学関連病院	(50%以上回収,	回収)	26	92	3.54	0.92
内科(1-2科)	(50%以上回収,	未回収)	3	9	3.00	0.78
と小児科	(50%未満回収,	回収)	12	57	4.75	1.23
	(50%未満回収,	未回収)	0			
	計		41	158	3.85	1
大学関連病院	回収		2	7	3.50	2.10
内科(1科)	未回収		7	8	1.14	0.69
	計		9	15	1.67	1

[#]: 計の欄の平均受給者数に対する比

(2) 督促前後の回収データに基づく検討⁶⁾

全国疫学調査では、通常、未回収施設の患者頻度が回収施設のそれよりも少ないと考えられる。この現象は、主として、患者なし施設の回収率が患者あり施設のそれよりも低いと想定される。この比を「患者の有無による回収率比」と呼ぶ。一次調査では未回収施設へ

の督促を行うことが多い。督促前後の回収データを用いると、統計モデルの下で「患者の有無による回収率比」が推定できる。患者の有無による回収率比は回収の偏りの大きさを指し、この推定値を用いて（回収の偏りなしを仮定せず）、患者数が推計できる。

督促前後における患者の有無別の施設からの回収について、次のように統計モデルを想定する。患者あり施設からの回収はそれぞれ独立に、一定の回収率に従うと仮定し、督促前後の回収率を p_1 と p_2 とおく。患者の有無による回収率比が督促の前と後で同じと仮定し、その回収率比を ϕ とおく。患者なし施設からの回収を同様に仮定すると、その督促前後の回収率は $p_1 \cdot \phi$ と $p_2 \cdot \phi$ となる。

表5-6に、アレルギー性肉芽腫性血管炎と家族性地中海熱の全国疫学調査における督促前後の回収状況、回収率比と推計患者数を示す^{2,3,6)}。アレルギー性肉芽腫性血管炎では、督促前の回収施設における患者あり施設の割合は23.7%、督促後のそれは21.3%であった。家族性地中海熱ではそれぞれが5.8%と5.3%であった。患者の有無による回収率比はアレルギー性肉芽腫性血管炎で0.86、家族性地中海熱で0.90と推定された。アレルギー性肉芽腫性血管炎の推計患者数は、回収の偏りなしの仮定に基づく方法が1,850人、患者の有無による回収率比に基づく方法が1,670人であり、両者の比が1.11であった。家族性地中海熱の推計患者数はそれぞれ320人と290人であり、両者の比が1.09であった。このように、患者なし施設の回収率は患者あり施設のそれよりも低いものの、回収の偏りなしの仮定に基づく推計患者数の過大評価程度は1.1倍程度と見積もられた。以上、先の医療受給データに基づく検討結果と同様に、患者数推計における回収の偏りなしの仮定がおおよそ妥当であると示唆される。

表5-6 アレルギー性肉芽腫性血管炎と家族性地中海熱の全国疫学調査における回収状況、回収率比と推計患者数

	アレルギー性肉芽腫性血管炎	家族性地中海熱
対象施設数	8,084	9,352
督促前の調査施設数	2,599	2,251
回収施設数	1,173	1,063
患者なし (%)	895 (76.3)	1,001 (94.2)
患者あり (%)	278 (23.7)	62 (5.8)
督促後の調査施設数	1,426	1,188
回収施設数	408	340
患者なし (%)	321 (78.7)	322 (94.7)
患者あり (%)	87 (21.3)	18 (5.3)
患者の有無による回収率比	0.86	0.90
報告患者数	956	170
推計患者数		
回収の偏りなしの仮定に基づく方法	1,850	320
患者の有無による回収率比に基づく方法	1,670	290
2つの方法による推計患者数の比	1.11	1.09

2) 有病患者数と罹患患者数の推計

罹患患者とは一定期間（たとえば、1年間など）内に新たに患者になった者を、時点有病患者とはある時点で患者であった者を、また、期間有病患者とは一定期間のいずれかの時点で患者であった者をいう。全国疫学調査では、通常、1年間に医療施設で受療した患者数を調べて、年間の期間有病患者数を推計している。ある時点での時点有病患者数は、調査あるいは集計の段階で、その時点で有病状態にある患者に限定して調査あるいは推計すればよい。多くの難病では、罹患患者数がきわめて少なく、致命率と治癒率が高くないことから、時点有病患者数と年間有病患者数に大きな差は生じない⁴⁾。

年間の罹患患者数については、年間の期間有病患者数に、その中の年間罹患患者割合を乗じて推計することが考えられる。いま、年間の期間有病患者数を全国疫学調査の一次調査の推計患者数 $\hat{\alpha}$ で、その年間罹患患者割合を二次調査の報告患者に占める診断後1年以内の者の割合 \hat{p} で推定すると、年間罹患患者数の推計値 $\hat{\beta} = \hat{\alpha} \hat{p}$ で与えられる。 $\hat{\alpha}$ の標準誤差（IV章を参照）を s_{α} 、 \hat{p} の分母の報告患者数を m とおくと、年間罹患患者数の95%信頼区間は、近似的に下式で与えられる⁴⁾。

$$(\hat{\beta} - 1.96 \cdot s_b, \hat{\beta} + 1.96 \cdot s_b)$$
$$s_b = \sqrt{\hat{p}^2 \cdot s_{\alpha}^2 + \hat{\alpha}^2 \cdot \hat{p}(1 - \hat{p})/m}$$

ここで、 s_b は $\hat{\beta}$ の標準誤差の推定量である。

たとえば、推計患者数とその標準誤差がそれぞれ1,000人と100人とする。仮に、二次調査の報告患者数とその年間罹患患者割合を200人と10%とすると、年間罹患患者数と95%信頼区間は100人と50～150人と計算される。二次調査で診断後1年以内と報告された患者の中に、実際は1年以上前に他の医療施設で診断された者が含まれると、年間罹患患者割合は過大評価となるゆえ、注意を要する。また、多くの難病では、罹患患者はきわめて少ないことから、全国疫学調査によって精度の高い推計罹患患者数を得ることは難しいかもしれない。

3) その他

その他の課題として、重複報告例と不適格例の問題を議論しよう。患者が調査対象期間内に複数の調査施設を受療すれば、複数の調査施設から同じ患者が報告される。これを重複報告例と呼ぶ。全国疫学調査では、二次調査として患者の詳細な情報を得れば、その情報から重複報告例の割合を見積もることができる。重複報告例の対処として、その割合を推計患者数（および95%信頼区間）に乗ずることが考えられる。これまでの調査結果から、重複報告例は数パーセント程度で、患者数推計上、影響が小さいと示唆される⁷⁻⁹⁾。一方、大規模病院と小規模病院での治療連携が多いことなど、難病の治療状況によっては重複報告例の対処が必要となる。

不適格例とは、調査対象の難病や受療期間などに該当しない者のことである。その対処として、二次調査による患者の詳細な情報から不適格例の割合を見積もり、その割合を推計患者数（および95%信頼区間）に乗ずることが考えられる。これまでの検討結果によれば、診断基準などの難病の特性によって、不適格例の割合には大きな違いがある⁷⁻⁹⁾。不適格例の対

処は難病ごとに個別の判断を要する。

文献

- 1) 橋本修二, 中村好一, 永井正規, 他. 難病医療費公費負担制度による医療費受給者の受療動向. 日本衛生学雑誌, 1992;47(4):831-42.
- 2) Migita K, Uehara R, Nakamura Y, et al. Familial Mediterranean fever in Japan. *Medicine (Baltimore)*, 2012;91(6):337-43.
- 3) Sada KE, Amano K, Uehara R, et al. A nationwide survey on the epidemiology and clinical features of eosinophilic granulomatosis with polyangiitis (Churg-Strauss) in Japan. *Mod Rheumatol*, 2014;24(4):640-4.
- 4) 橋本修二, 福富和夫, 清水弘之, 他. 難病の全国疫学調査の方法上の諸問題に関する検討. 公衆衛生研究, 1993;42(2):219-28.
- 5) Hashimoto S, Fukutomi K, Nagai M, et al. Response bias in the nationwide epidemiological survey of an intractable disease in Japan. *J Epidemiol*, 1991;1(1):27-30.
- 6) Hashimoto S, Kawado M, Kawamura T, et al. Effect of non-response bias on the numbers of patients with intractable diseases estimated based on nationwide epidemiological surveys of Japan. *Fujita Medical Journal*, 2016;2(3):55-8.
- 7) Wakai K, Tamakoshi A, Ohno Y, et al. Estimated prevalence of Sjögren's syndrome in Japan: findings from a nationwide epidemiological survey. *J Epidemiol*, 1995;5(3):125-9.
- 8) Wakai K, Ohta A, Tamakoshi A, et al. Estimated prevalence and incidence of adult Still's disease: findings by a nationwide epidemiological survey in Japan. *J Epidemiol*, 1997;7(4):221-5.
- 9) Kuriyama S, Kusaka Y, Fujimura M, et al. Prevalence and clinicoepidemiological features of moyamoya disease in Japan: findings from a nationwide epidemiological survey. *Stroke*, 2008;39(1):42-7.
- 10) 野村武夫, 清水弘之, 吉田弥太郎, 他. 不応性貧血の有病率調査報告. 日本医事新報, 1992;3566:26-9.

VI. 難病の全国疫学調査の調査書類例

特発性大腿骨頭壊死症の全国疫学調査に基づいて、調査書類の例を資料1～資料11に示す。

- 資料1. 一次調査依頼状
- 資料2. 一次調査再依頼状
- 資料3. 一次調査票（葉書）
- 資料4. 礼状
- 資料5. 診断基準
- 資料6. 二次調査依頼状
- 資料7. 二次調査抽出状況調査票（兼）一次調査葉書コピーの貼付用紙
- 資料8. 二次調査個人票
- 資料9. 対象者番号とカルテ番号の対応表
- 資料10. 情報公開文書
- 資料11. 発送ラベル

資料1 一次調査依頼状

2015年 1月

診療科 責任者様 ご担当医御侍史

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
研究代表者 菅野 伸彦 (大阪大学 運動器医工学治療学)
疫学調査担当 福島 若葉 (大阪市立大学 公衆衛生学)
「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」
研究代表者 中村 好一 (自治医科大学 公衆衛生学)

特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH) の全国疫学調査 一次調査のお願い

拝啓 時下、益々ご清祥のこととお慶び申し上げます。

この度、厚生労働省「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」班は、厚生労働省「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」班と共同で、特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH: idiopathic osteonecrosis of the femoral head) の全国疫学調査を実施することになりました。

ONFHは、明らかな基礎疾患がないにもかかわらず大腿骨頭が阻血性壊死に陥って破壊され、股関節機能が失われる難治性疾患です。1995年と2005年に、今回と同手法による調査が実施されております。ONFHの患者数と臨床疫学特性について最新の情報を把握するため、本調査へのご理解とご協力をお願いいたします。

- 1) 同封の診断基準を参考に、**2014年1年間(2014年1月1日～2014年12月31日)**の貴診療科における **ONFH受診患者数(初診・再診を問わず、総てのONFH患者が対象)**を同封の葉書にご記入の上、2015年1月23日(金)までにご返送ください。
- 2) 該当する患者がない場合も、全国の患者数推計に必要ですので、「1.なし」に○をつけてご返送ください。
- 3) 該当する患者「あり」の場合は、後日個人票をお送りいたします(最近数年間に確定診断されたONFH症例についてご報告をお願いする予定です)。あわせてご協力くださいますようお願い申し上げます。

ご提供をお願いする情報は「匿名化された既存情報」のため、対象患者からの同意取得および貴施設倫理委員会での審査は必ずしも必要ではありません。本調査は、情報の提供先である大阪大学大学院医学系研究科、大阪市立大学大学院医学研究科の倫理委員会の承認を得て実施しています。

ご不明の点がございましたら下記までお問い合わせください。御多忙のところ恐縮ですが、何卒ご協力のほどお願い申し上げます。

敬具

全国疫学調査事務局：〒545-8585 大阪市阿倍野区旭町1-4-3
大阪市立大学大学院医学研究科 公衆衛生学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
全国疫学調査担当 福島 若葉
電話：06-6645-3756 F A X：06-6645-3757
E-mail：epidemiol@med.osaka-cu.ac.jp

臨床事項に関する問い合わせ先：〒565-0871 大阪府吹田市山田丘2-2
大阪大学大学院医学系研究科 運動器医工学治療学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
事務局 坂井 孝司
電話：06-6879-3271 F A X：06-6879-3272
E-mail：onfh@ort.med.osaka-u.ac.jp

資料 2 一次調査再依頼状

2015 年 2 月

診療科 責任者様 ご担当医御侍史

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
研究代表者 菅野 伸彦 (大阪大学 運動器医工学治療学)
疫学調査担当 福島 若葉 (大阪市立大学 公衆衛生学)
「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」
研究代表者 中村 好一 (自治医科大学 公衆衛生学)

特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH) の全国疫学調査 一次調査の再依頼

拝啓 時下、益々ご清祥のこととお慶び申し上げます。

過日、特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH: idiopathic osteonecrosis of the femoral head) の全国疫学調査へのご協力をお願いいたしましたが、未だご回答を確認できておりませんので、再度のご依頼を申し上げます。

本調査は、厚生労働省「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」班の研究の一環として、厚生労働省「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」班と共同で実施しております。

ONFH は、明らかな基礎疾患がないにもかかわらず大腿骨頭が阻血性壊死に陥って破壊され、股関節機能が失われる難治性疾患です。1995 年と 2005 年に、今回と同手法による調査が実施されております。ONFH の患者数と臨床疫学特性について最新の情報を把握するため、本調査へのご理解とご協力をお願いいたします。

- 1) 同封の診断基準を参考に、**2014 年 1 年間 (2014 年 1 月 1 日～2014 年 12 月 31 日)** の貴診療科における **ONFH 受診患者数 (初診・再診を問わず、総での ONFH 患者が対象)** を同封の葉書にご記入の上、2015 年 2 月 13 日 (金) までにご返送ください。
- 2) 該当する患者がない場合も、全国の患者数推計に必要ですので、「1.なし」に○をつけてご返送ください。
- 3) 該当する患者「あり」の場合は、後日個人票をお送りいたします (最近数年間に確定診断された ONFH 症例についてご報告をお願いする予定です)。あわせてご協力くださいますよう重ねてお願い申し上げます。

ご提供をお願いする情報は「匿名化された既存情報」のため、対象患者からの同意取得および貴施設倫理委員会での審査は必ずしも必要ではありません。本調査は、情報の提供先である大阪大学大学院医学系研究科、大阪市立大学大学院医学研究科の倫理委員会の承認を得て実施しています。

本状と行き違いにご回答をいただいている場合には、失礼をお許しください。また、ご不明の点がございましたら下記までお問い合わせください。御多忙のところ恐縮ですが、何卒ご協力のほどお願い申し上げます。

敬具

全国疫学調査事務局：〒545-8585 大阪市阿倍野区旭町 1-4-3
大阪市立大学大学院医学研究科 公衆衛生学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
全国疫学調査担当 福島 若葉
電話：06-6645-3756 FAX：06-6645-3757
E-mail：epidemiol@med.osaka-cu.ac.jp

臨床事項に関する問い合わせ先：〒565-0871 大阪府吹田市山田丘 2-2
大阪大学大学院医学系研究科 運動器医工学治療学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
事務局 坂井 孝司
電話：06-6879-3271 FAX：06-6879-3272
E-mail：onfh@ort.med.osaka-u.ac.jp

資料3 一次調査票(葉書)

<p>大阪市阿倍野区旭町 1-4-3 大阪市立大学大学院医学研究科 公衆衛生学教室内</p> <p>厚生労働科学研究費補助金 「特発性大腿骨頭壊死症の 疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と 診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」</p> <p>特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH) 全国疫学調査 事務局</p> <p>福島 若葉 行</p>	<p style="text-align: center;">特発性大腿骨頭壊死症(ONFH)の一次調査</p> <p>記載年月日 2015年____月____日 貴施設名： 貴診療科名： ご回答医師名：_____</p> <p style="text-align: center;">特発性大腿骨頭壊死症(ONFH)の診断基準を満たす症例</p> <p>1. なし 2. あり → <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> 例 (うち男性 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> 例)</p> <p>記入上の注意事項</p> <p>1. 貴診療科における 2014年1年間(2014年1月1日～12月31日) の 受診患者数(初診・再診を問わず、総てのONFH患者が対象) について、ご記入下さい。</p> <p>2. 全国有病患者数の推計を行いますので、該当する患者のない場合でも「1.なし」に○をつけ、ご返送下さい。</p> <p>3. 後日、各症例について二次調査を行います(最近数年間に確定診断されたONFH症例についてご報告をお願いする予定です)。あわせてご協力下さいますようお願い申し上げます。</p> <p>2015年1月23日(金)までにご返送いただければ幸いです。</p> <p style="text-align: right;"><input type="text"/></p>
---	---

資料 4 礼状

謹啓

先生方には益々御清栄のこととお慶び申し上げます。
このたびは、厚生労働省「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と診療ガイドライン策定を旨とした大規模多施設研究班」の研究の一環として、厚生労働省「難治性疾患の継続的な疫学データの収集・解析に関する研究班」と共同で、「特発性大腿骨頭壊死症」の全国疫学調査を実施いたしました。本調査にご協力を賜り、誠にありがとうございました。厚く御礼申し上げます。今後とも何卒よろしくお願い申し上げます。

謹白

平成二十七年 二月

「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を旨とした大規模多施設研究班」事務局
〒565-0871 大阪府吹田市山田丘2-2
大阪大学大学院医学系研究科 運動器工科学治療学
「難治性疾患の継続的な疫学データの収集・解析に関する研究班」事務局
〒329-0498 栃木県下野市薬師寺33-1111
自治医科大学地域医療学センター 公衆衛生学部門

特発性大腿骨頭壊死症の診断基準

X線所見

1. 骨頭圧潰または crescent sign (骨頭軟骨下骨折線)
 2. 骨頭内の帯状硬化像の形成
 1. 2. については
 - (1) 関節裂隙が狭小化していないこと
 - (2) 白蓋には異常所見がないこと
- を要する

検査所見

3. 骨シンチグラム：骨頭の cold in hot 像
4. 骨生検標本での修復反応層を伴う骨壊死層像
5. MRI：骨頭内帯状低信号域 (T1 強調像)

判定

確定診断：上記 5 項目のうち 2 つ以上を有するもの

除外診断

- ① 二次性(大腿骨頭部骨折後、外傷性股関節脱臼後、放射線照射後)大腿骨頭壊死
- ② 変形性股関節症
- ③ 減圧症に合併する大腿骨頭壊死
- ④ 小児に発生するペルテス病
- ⑤ 大腿骨頭すべり症
- ⑥ 一過性大腿骨頭萎縮症
- ⑦ 大腿骨頭軟骨下脆弱性骨折
- ⑧ 急速破壊型股関節症
- ⑨ 腫瘍性疾患
- ⑩ 骨系統疾患 (骨端異形成症など)

資料 6 二次調査依頼状

2015 年 8 月

〇〇 〇〇 先生御侍史

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業

「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」

研究代表者 菅野 伸彦 (大阪大学 運動器医学治療学)
疫学調査担当 福島 若葉 (大阪市立大学 公衆衛生学)

「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」
研究代表者 中村 好一 (自治医科大学 公衆衛生学)

特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH) の全国疫学調査 二次調査のお願い

拝啓 時下、益々ご清祥のこととお慶び申し上げます。

先般、特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH: idiopathic osteonecrosis of the femoral head) の全国疫学調査 (一次調査) につきまして、貴診療科へご協力をお願い申し上げましたところ、ご多忙中にも関わらずご回答をいただき誠にありがとうございました。ご回答に基づきまして、二次調査個人票を同封致しました。重ねてのお願いで誠に恐縮でございますが、下記についてご協力をお願い申し上げます。

- 1) 一次調査でご報告いただいた ONFH 患者 (2014 年 1 年間に貴科を受診した総ての患者) のうち、**最近 3 年間 (2012 年 1 月 1 日～2014 年 12 月 31 日) に確定診断された ONFH 患者** について、同封の個人票にご記入ください (「抽出状況調査票」もご参照ください)。
- 2) 「**個人票**」と「**抽出状況調査票**」は、**2015 年 9 月 30 日までに** 返信用封筒にてご返送下さい。
- 3) 匿名化のため、
 - ・ 貴院カルテ番号は、同封の【「調査対象者番号」と「カルテ番号」の対応表】にご記入ください。
 - ・ 個人票には、対応する「調査対象者番号」のみご記入下さい。

なお、対応表は、貴院にて鍵のかかる場所に 2016 年 3 月末日まで保管下さい。保管期間を過ぎましたら、シュレッダーにかけるなどお取り扱いにご注意の上、破棄いただきますようお願いいたします。

ご提供をお願いする情報は「匿名化された既存情報」です。現行の倫理指針によると、対象患者からの同意取得および貴施設倫理委員会での審査は必ずしも要しませんが、**ご提供いただく既存情報の内容について、貴施設の所属長に把握いただくことが必要です。**

本調査は、情報の提供先である大阪大学大学院医学系研究科、大阪市立大学大学院医学研究科の倫理委員会の承認を得て実施しています。ご不明の点がございましたら下記までお問い合わせください。御多忙のところ恐縮ですが、何卒ご協力のほどお願い申し上げます。

敬具

全国疫学調査事務局 : 〒545-8585 大阪市阿倍野区旭町 1-4-3
大阪市立大学大学院医学研究科 公衆衛生学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
全国疫学調査担当 福島 若葉
電 話 : 06-6645-3756 F A X : 06-6645-3757
E-mail : epidemiol@med.osaka-cu.ac.jp

臨床事項に関する問い合わせ先 : 〒565-0871 大阪府吹田市山田丘 2-2
大阪大学大学院医学系研究科 運動器医学治療学
「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」
事務局 坂井 孝司
電 話 : 06-6879-3271 F A X : 06-6879-3272
E-mail : onfh@ort.med.osaka-u.ac.jp

特発性大腿骨頭壊死症（ONFH）の全国疫学調査：二次調査

抽出状況調査票

- 1) 一次調査でご報告いただいた ONFH 患者（2014 年 1 年間に貴科を受診した総ての患者）のうち、**最近 3 年間（2012 年 1 月 1 日～2014 年 12 月 31 日）に確定診断された ONFH 患者**について、二次調査個人票へのご記入をお願いいたします。
- 2) 抽出状況について下記にご回答の上、**本票を、個人票とともにご返送下さい。**

一次調査 報告患者数

--	--	--

例 （2014 年 1 年間に貴科を受診した、総ての ONFH 患者）

うち

二次調査 抽出数

--	--	--

例 （2012 年 1 月 1 日～2014 年 12 月 31 日の 3 年間に
確定診断された ONFH 患者）

- 二次調査に該当する患者がいない場合（総ての患者が 2011 年 12 月 31 日までに確定診断されていた場合）も、抽出状況（例：報告患者数 xx 人、抽出数 0 人）をご記入の上、ご返送ください。

（ご参考）

貴科からご返送いただいた
一次調査はがきのコピーを
添付いたします。

※患者数に修正がございましたら、
コピーに直接記入いただくなどで
お知らせください。

【 コピー貼り付け欄 】

資料 8 二次調査個人票

特発性大腿骨頭壊死症(ONFH)全国疫学調査 二次調査個人票

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業
 「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査: 診断基準・重症度分類の改訂と診療ガイドライン策定を目的とした大規模多施設研究」
 「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」

貴施設名: _____ 記載者ご氏名: _____ 記載年月日: 2015 年 ____ 月 ____ 日

この票は実態把握のためにのみ使用し、個人の秘密は厳守します。該当する番号を選択、又は御記入下さい。

調査対象者番号 別紙対応表 参照	性別	1. 男	生年月	(1.明 2.大 3.昭 4.平) _____ 年 ____ 月 ____ 日 現在(____)歳	
		2. 女	居住都道府県	出生時:(____)・不明 発病時:(____)・不明	
貴施設初診年月	(1.昭 2.平) _____ 年 ____ 月	推定発症年月	(1.昭 2.平) _____ 年 ____ 月	不明・未発症	
確定診断した医療機関	1. 貴施設 2. 他施設	確定診断年月	(1.昭 2.平) _____ 年 ____ 月	不明	
既往歴 (確定診断前)	ステロイド 全身投与歴 1. なし 2. あり →	対象疾患(複数回答可):			
		1. SLE	2. RA	3. 多発性筋炎・皮膚筋炎	4. その他の膠原病(病名: _____)
		5. 腫瘍性疾患 [a. 良性 b. 悪性] [部位: a. 血液 b. 脳 c. その他(____)]			
		6. 血小板減少性紫斑病	7. 再生不良性貧血	8. その他の血液疾患(病名: _____)	
		9. 喘息	10. COPD	11. 間質性肺炎	
		12. その他の呼吸器疾患(病名: _____)			
		13. 肝炎			
		14. 炎症性腸疾患 [a. 潰瘍性大腸炎 b. クロウン病]			
		15. ネフローゼ症候群			
		16. 腎炎			
17. その他の腎疾患(病名: _____)					
18. 皮膚疾患(病名: _____)					
19. 眼疾患(病名: _____)					
20. 耳疾患(病名: _____)					
21. 顔面神経麻痺					
22. その他(____)					
23. 不明					
上記対象疾患のうち 確定診断が最も早いもの		疾患番号	上記より選択 (____)		
		確定診断年	(1.昭 2.平) _____ 年・不明		
		投与期間	(____)年(____)か月・不明		
		ステロイド 最高投与量	※パルスは除いて(____)mg/日・不明		
		パルス投与	なし・あり・不明		
移植歴	1. なし 2. あり →	移植臓器 [a. 腎 b. 骨髄 c. その他(____)]			
習慣飲酒歴	1. なし 2. あり →	1日当たりの平均量 [日本酒換算 ※欄外参照]: (____)合・不明 頻度:(____)日/(1.週 2.月)・不明 期間:(____)年・不明			
喫煙歴	1. なし 2. あり →	1日当たりの平均本数:(____)本・不明 期間:(____)年・不明			
		右		左	
ONFHの有無	1. なし(正常) 2. あり	1. なし(正常) 2. あり			
確定診断時 所見	画像所見 (有する 項目に○)	1. X線: 骨頭圧潰/crescent sign (骨頭軟骨下骨折線)		1. X線: 骨頭圧潰/crescent sign (骨頭軟骨下骨折線)	
		2. X線: 骨頭内の帯状硬化像の形成		2. X線所見: 骨頭内の帯状硬化像の形成	
		3. 骨シンチグラム: 骨頭の cold in hot 像		3. 骨シンチグラム: 骨頭の cold in hot 像	
		4. MRI: 骨頭内帯状低信号域(T1 強調像)		4. MRI: 骨頭内帯状低信号域(T1 強調像)	
		5. 骨生検標本: 修復反応層を伴う骨壊死像		5. 骨生検標本: 修復反応層を伴う骨壊死像	
1. 2. については、関節裂隙が狭小化していないこと、臼蓋に異常所見がないことを要する					
病型(Type)	A・B・C-1・C-2・不明		A・B・C-1・C-2・不明		
病期(Stage)	1・2・3A・3B・4・不明		1・2・3A・3B・4・不明		
手術	施行有無	1. 未施行 2. 施行		1. 未施行 2. 施行	
	手術日(初回)	(1.昭 2.平) _____ 年 ____ 月・不明		(1.昭 2.平) _____ 年 ____ 月・不明	
	術式(初回)	1. 骨切り術 2. 骨移植術 3. 人工骨頭置換術 4. 人工関節置換術 5. その他(____) 6. 不明		1. 骨切り術 2. 骨移植術 3. 人工骨頭置換術 4. 人工関節置換術 5. その他(____) 6. 不明	
画像診断による 大腿骨頭以外の骨壊死 (これまで)	1. 検査なし 2. 検査あり (1. 壊死なし 2. 壊死あり → [部位:a. 肩関節 b. 膝関節 c. 足関節 d. その他(____)]) 3. 不明				
公費負担(現在)	ONFHによる特定疾患医療受給者証の申請		1. なし 2. あり		
最終受診日	平成 ____ 年 ____ 月 ____ 日				

※ 日本酒換算 : ビール大瓶 1本→日本酒 1合 ウイスキーダブル 1杯→日本酒 1合 焼酎 1合→日本酒 1合半 ワイン 1/3本→日本酒 1合 とほぼ同等です

資料9 対象者番号とカルテ番号の対応表

医療機関控え用

特発性大腿骨頭壊死症 (ONFH) 全国疫学調査
【 二次調査個人票の「調査対象者番号」と「カルテ番号」の対応表 】

記載者ご氏名 _____ 「二次調査個人票」投函日:2015 年 ____ 月 ____ 日

調査対象者 番号	カルテ番号	氏 名	調査対象者 番号	カルテ番号	氏 名
1			26		
2			27		
3			28		
4			29		
5			30		
6			31		
7			32		
8			33		
9			34		
10			35		
11			36		
12			37		
13			38		
14			39		
15			40		
16			41		
17			42		
18			43		
19			44		
20			45		
21			46		
22			47		
23			48		
24			49		
25			50		



※この通し番号を、二次調査個人票の「調査対象者番号」欄にご記入下さい。

この対応表は、個人票の記入内容について後日お問い合わせさせていただく必要が生じた場合に、カルテ番号を同定するために必要となります。2016年3月末日まで、鍵のかかる場所に保管下さい。保管期間を過ぎましたら、シュレッダーにかけるなどお取り扱いにご注意の上、破棄いただきますようお願いいたします。

特発性大腿骨頭壊死症の患者様へのお知らせとお願い

当院は、厚生労働省の研究班が実施する「全国疫学調査」に協力しております。得られた成果は、病気の予防や診断・治療の向上に役立てたいと考えております。

このため、特発性大腿骨頭壊死症で受診中の患者様のうち、2012年～2014年の期間に診断された方について、調査へのご協力とご理解をお願い申し上げます。

【ご協力いただきたいこと】

- あなたの病気に関する診療情報（カルテに記載されている検査結果など）を、調査のために使わせてください。

【ご協力にあたり、ご理解いただきたいこと】

- あなた個人に、お電話などで直接問い合わせることは一切ありません。
調査は、あなたの主治医が、カルテに記載されている検査結果などを、所定の調査票に記入することにより行います。調査票は、この調査を担当している大阪市立大学大学院医学研究科公衆衛生学へ送られます。
- あなた個人の情報は、厳重に管理します。
調査票には、あなたの「性別、生年月（日は除く）、居住地（都道府県まで）」を記載します。しかし、「カルテ番号、氏名、住所、電話番号」など、個人を特定できる情報は記載しません。
調査票の内容は、プライバシー保護のため、個人が特定できないような単なる数字の情報に置き換えて集計します。調査結果を公表する場合も、個人名が出ることはありません。
- この調査に関してご質問などございましたら、主治医または下記までお問い合わせ下さい。

〒545-8585 大阪市阿倍野区旭町 1-4-3
大阪市立大学大学院医学研究科公衆衛生学内 全国疫学調査事務局 担当 福島 若葉
電話：06-6645-3756 FAX：06-6645-3757

.....

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業

「特発性大腿骨頭壊死症の疫学調査・診断基準・重症度分類の改訂と
診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」

研究代表者 菅野 伸彦（大阪大学 運動器医工学治療学）

疫学調査担当 福島 若葉（大阪市立大学 公衆衛生学）

「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」

研究代表者 中村 好一（自治医科大学 公衆衛生学）

資料 11 発送ラベル

〒078-8510 北海道旭川市緑が丘東二条 1-1-1 国立大学法人 旭川医科大学病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0001・1: univ	〒060-8543 北海道札幌市中央区南一条西 16-291 公立大学法人 札幌医科大学附属病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0002・1: univ	〒060-8648 北海道札幌市北区北十四条西 5 丁目 国立大学法人 北海道大学病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0003・1: univ	〒036-8563 青森県弘前市本町 53 国立大学法人 弘前大学医学部附属病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0004・1: univ
〒080-0016 北海道帯広市西六条南 8-1 北海道厚生農業協同組合連合会 帯広厚生病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0133・2:500-	〒090-8666 北海道北見市北六条東 2-1 北見赤十字病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0134・2:500-	〒070-8610 北海道旭川市金星町 1-1-65 市立旭川病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0135・2:500-	〒078-8211 北海道旭川市一条通 24・111-3 北海道厚生農業協同組合連合会 旭川厚生病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0136・2:500-
〒068-8555 北海道岩見沢市九条西 7-2 岩見沢市立総合病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0377・3:400-499	〒053-8506 北海道苫小牧市若草町 3-4-8 医療法人 王子総合病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0378・3:400-499	〒096-8511 北海道名寄市西七条南 8-1 名寄市立総合病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0379・3:400-499	〒051-8501 北海道室蘭市新富町 1-5-13 医療法人 母恋 日鐘記念病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0380・3:400-499
〒049-3197 北海道二世郡人雲町東雲町 50 八雲総合病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0581・4:300-399	〒099-0404 北海道紋別郡遠軽町大通北 3-1-5 北海道厚生農業協同組合連合会 遠軽厚生病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0582・4:300-399	〒097-0022 北海道稚内市中央 4-11-6 市立稚内病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0583・4:300-399	〒052-8511 北海道伊達市末永町 81 総合病院 伊達赤十字病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0584・4:300-399
〒074-0006 北海道深川市六条 6-1 深川市立病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0781・5:200-299	〒047-8550 北海道小樽市若松 1-2-1 市立小樽病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0782-5:200-299	〒070-0054 北海道旭川市四条西 4-1-2 医療法人社団 慶友会 吉田病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0783・5:200-299	〒080-0833 北海道帯広市稲田町基線 9-1 医療法人社団 北斗病院 整形外科 責任者様 ご担当医御侍史 大腿・0784・5:200-299

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
第3版

発行日 2017年1月31日

編集発行者 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・解析に関する研究班
研究代表者 中村好一

〒329-0498 栃木県下野市薬師寺3311-1

自治医科大学地域医療学センター公衆衛生学部門

TEL : 0285-58-7338

FAX : 0285-44-7217

