


方法

研究の方法


期間	2017年4月～2022年3月（5年間）
同意 撤回	研究説明書を作成し、承諾いただければ、同意書にサインをしてもらう。 同意撤回も公表前であれば可能とした。

 J-RARE

進捗過程

進捗スライド-実施計画上のポイント -

<p style="text-align: center;">測定方法の統一</p> <p>日本教育シューズ協議会よりの資材寄贈</p>	<p style="text-align: center;">患者視点の説明書</p> <p>趣旨を変更せず、平易な内容に</p>
<p style="text-align: center;">研究班の医師からメッセージ</p> <p>緒方勤先生より</p>	<p style="text-align: center;">病名未告知者への同意</p> <p>患者のために</p>

 J-RARE

進捗過程

病名未告知者（特に子ども）への同意

- 保護者が勝手に研究に参加したら、子どもは、いい気持ちがないのではないか。
→ **告知をしていることが研究参加の条件に。**
- 告知をする時期は、医療者も悩むところで、患者・家族にとってもデリケートな問題。
→ **保護者の意向に任せてはどうか？**

➡ 保護者は、**患者が告知を受けた時点で、研究参加について明かす約束。**

 J-RARE

研究班との連携

緒方 勤教授（浜松医科大学小児科）よりのメッセージ

この度、Silver-Russell症候群の患者さんのグループが、自発的に足の症状に関する研究を開始すると伺い、とても素晴らしいものと存じます。Silver-Russell症候群については、国際的な診断・診断に関するコンセンサスがまさに2016年9月にNature Review Endocrinologyに出版されたところですが、この「足」についての記載はありません。このような研究は、まさに患者さんでなければ気づかないものであり、その着眼と行動力に敬意を表したいと思います。私たち医療者にその成果を還元して頂けることを期待しておりますし、このような研究が患者さんご自身のQOL改善に結実することを祈願しております。

緒方勤

 J-RARE

今後の計画

今後の計画

2017年4月 スタート!!

3月 6月 9月 12月

初回のみ 4月

足を測定して
J-RAREに登録しよう!

シルバー・ラッセル症候群

初回 2017年4月
第1回調査実施

当面5年間
3、6、9、12月実施

初めてづくしの研究。
一步一步、多くの方々と試行錯誤を重ねながら、
研究を前に進めたいです。どうぞ、よろしくお願いいたします。

 J-RARE

2017/3/19(日)
J-RARE研究班成果報告会

**マルファン症候群およびその類縁疾患患者のうち、
大動脈解離と診断された方、大動脈拡張症や大動脈
瘤と診断された方に対する診断前後の就労状況調査
—経過報告—**

日本マルファン協会
関 良介・猪井 佳子
(西村 由希子・江本 駿 (ASrid))



本日の発表について

- 代表の関さんが退院直後で遠出ができず欠席です。
- 前代表の猪井さんが先日手術を終えられたばかりで現在も入院中のため欠席です。
- そのため、本年度ともに調査内容を検討・実施してまいりましたASridメンバーが経緯を報告します。
- 内容については上記2名の上承を得ております。



本日の発表について

- 今年度実施・進捗報告
- 来年度実施予定項目

J-RAREに参加している理由

- 患者会の所属に関係なく、希望するすべての患者に平等に、自分の病状を役立たせる・記録しておくことができるデータベースがある。
- 信憑性のあるアンケート調査ができる。それによって、実態改善を求める際の根拠にできる。
- 他の患者会さんや研究者の活動を知ること、当会の参考になる。

猪井佳子氏

J-RAREの周知活動（HP）

The image shows two screenshots of the J-RARE website. The left screenshot is the homepage, featuring a banner with the slogan "情報は命を救う・情報は生きる支え" (Information saves lives, information is support for living) and a group of people. Below the banner are several news items and a "会員登録しよう" (Register) button. The right screenshot is a page titled "会員登録しよう" (Register), which explains the purpose of the J-RARE.net patient registry and includes a "会員登録しよう" button. A red arrow points from the homepage to the registration page.

J-RARE

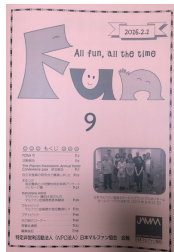
J-RAREの周知活動（会報）

- 会報誌FunでJ-RARE登録・調査協力呼びかけ

2015年8月5日発行Fun8号



2016年2月1日発行Fun9号



2016年11月28日発行Fun10号

J-RARE

調査実施経緯－1/2

- 2015年度から調査項目を検討
「就労に関する調査を実施したい」



交流会で聞かれる就職活動の不安の声

«若者や親御さん»

- ◆ 仕事に就けるのだろうか
- ◆ どんな職種を選ぶのがよいのだろうか
- ◆ 会社に伝えるメリット・デメリット
- ◆ 会社に伝える時期・内容・伝え方

«離職された患者さん»

- ◆ 大動脈解離が残っている状況での再就職
- ◆ 体調のため、他職種への変更となる不安

 J-RARE

調査実施経緯－2/2

2016年度

- ❖ 2ヶ月かけて患者会・研究者間で患者側ニーズを調査・意見交換
- ❖ 上述内容をもとに調査内容決定・有意差が期待できそうな項目を設定
- ❖ 医師側研究班代表とともに文言確認・協力依頼
- ❖ WEB回答フォームを作成・倫理審査委員会申請
- ❖ 倫理審査委員会承認後、調査開始

本年度末まで調査を実施中

 J-RARE

調査概要－1/2

目的・意義

- 就労の実態調査と就労継続の要因の探索・QOL向上
 - マルファン症候群・類縁疾患の就労への影響を明らかにし
 - [対職場] 就労環境の改善につなげる
 - [对患者] 他者の就職活動や就労の仕方を知る・取り入れる

調査項目

1. 基本情報
2. 診断されたときの状況
3. 診断直前の就労状況
4. 診断直後の就労状況

項目や質問数、迷わないかなど手術経験のある会員と
フィージビリティのチェックを行った



調査概要－2/2

対象者

16歳以上で、就労経験のある大動脈解離または大動脈拡張症や大動脈瘤と診断された下記疾患患者またはその家族
(遺族含む)

- マルファン症候群
- ロイス・ディーツ症候群
- エーラス・ダンロス症候群
- 家族性大動脈瘤・解離

回答時間

10～15分程度

(大動脈解離等を複数回診断された方は、
その回数ごとに回答)



アンケート項目と参加方法

【項目】

1. 基本情報
 2. 大動脈解離/拡張症/瘤を経験したときの状況
 3. 経験する「直前」の就労状況
 4. 経験する「直後」の就労状況
 5. 今後大動脈解離・大動脈拡張症・大動脈瘤を経験される可能性のある方に対するコメント
- ※複数回経験のあるかたは、その都度回答していただきます。

【参加方法】

- ・ J-RARE上のアンケートフォーム または 質問紙
- ・ 所要時間は10~15分程度



患者会としての調査に対する期待

日本マルファン協会はマルファン症候群が指定難病に新たに指定されるよう運動を続けてきました。幸い2回目に発表された中に含まれました。

難病への支援では医療助成や因の研究とともに就労支援があります。健康上の不安を持ちながら就労することについて、どのような問題があるのかを調べ、マルファン症候群としての就労支援に反映させたいとして、今回の就労に関するアンケートを実施しました。

実態に合う就労支援が行われるよう期待するものです。

関良介氏



Web・専門医などを通じて参加呼びかけ



The screenshot shows the homepage of the Japanese Marfan Association (JMAA). The main navigation menu includes '最新情報一覧' (Latest Information List), 'マルファン症候群とは' (What is Marfan Syndrome), 'マルファンとともに' (Living with Marfan Syndrome), and '社会保障' (Social Security). A breadcrumb trail indicates the current page is 'HOME > 最新情報一覧 > 協会活動,最新情報一覧 > マルファン症候群と類縁疾患の就労状況調査【回答期限延長3月末までご協力をお願いします】'.

協会活動

マルファン症候群と類縁疾患の就労状況調査【回答期限延長3月末までご協力をお願いします】

協会活動 最新情報一覧 2017年01月08日

日頃より、協会活動にご高配を賜りまして厚く御礼申し上げます。
本年もどうぞよろしくお願いたします。

さて、厚生労働科学研究費難治性疾患政策研究事業の一環として実施しておりますマルファン症候群等の就労アンケート調査の回答期限を2017年3月末まで延長いたします。当会員以外の該当者様にもご協力を賜りますよう、重ねてお願いいたします。

調査賛同機関

東大マルファン外来
国立循環器病研究センター
榊原記念病院

など
(チラシを配布)

J-RARE

倫理面からの検討（大きな論点）

【背景となった箇所】

- ・ 患者に加えて家族も回答ができる
- ・ 患者が亡くなっている場合には遺族が回答

【問題】 患者本人の意思確認が当初は不要だったので、本人の望まない回答がないとも限らない

遺族が代わりに回答する場合は患者の意思が確認不可

【解決方法】

1. 患者本人が自分で回答 → 患者の自署のみ
2. 患者本人が家族の回答サポートを受けて回答
→ 患者本人と家族両方の自署
3. 家族や遺族が回答 → 患者の同意を得て家族が自署
(本人にも同意内容を送付する)

調査をはじめてみて（倫理審査）

今回私たちは初めて倫理審査を受けました。

何度も改善のご指摘とご指導をいただき、なるほどと思いつつも、正直なところ大変な作業でした。特に江本さんには大変お世話になりました。審査委員会のみなさまにも何度も修正でご迷惑おかけしたと思います。

患者会だけでとるアンケート調査は、手軽ですが、倫理審査委員会を通していないという点で、偏ったものになってはいないかという問題が常にあります。

日本の患者会が患者の課題解決のために、冷静に意見を伝えるためには、大学並みの倫理審査委員会を通じたデータ収集が必要だと思えます。

猪井 佳子 氏



調査をはじめてみて（課題）

ただ、私たちはまだそれには全く慣れていない…。慣れる前に疲れてしまう…。というのが、ボランティアの限界なのだと思います。

ほとんどが患者本人であり、患者家族であるという、患者会の構成も。

まずは体調ありきであり、生活ありきであり、次は会の運営であり、余力でアンケート調査であり…という現状。

せめて数名が専従で、仕事としてできれば状況は変わるのではと考えます。

猪井 佳子 氏



今後の流れ

- 現在の回答数
 - ・ 1回目の回答数 20名
 - ・ 2回目以降の回答数 5名
- 会員に向けた郵送を検討する
- データ解析と結果の解釈
- 結果の発表と研究班との共有
 - ・ 就労実態の基礎資料
 - ・ 大動脈解離や大動脈拡張・大動脈瘤の患者のよりよい働き方や、就労環境を整えることに活用
 - ・ 就労継続のための病名や症状の開示の仕方についての改善資料

2017/3/19(日)
J-RARE研究班成果報告会



「遠位型ミオパチー患者の
介助・介護に関するニーズ調査」の経過報告

NPO法人PADM 遠位型ミオパチー患者会
代表 織田友理子, 事務局 若宮有希
ASrid 江本駿、西村由希子

 J-RARE.net

患者会トピック

2016年度のトピック

- 空胞型の治療薬が日米で第2/3相実施中
- 三好型初の治療薬が治験開始？
- ナンセンス変異のリードスルー薬 
- みんなでつくるバリアフリーマップアプリ
「WheeLog」
- R C版を5月下旬リリース予定 

 J-RARE

背景

調査の背景

- 遠位型ミオパチーとは
 - 手足など身体を中心から離れたところから筋力が落ちていく、緩徐進行性の筋疾患です。
 - 発症すると10数年で車椅子を常時必要とするような状態になり、さらには寝たきりとなっている例があります（型による違いや個人差があります）。
 - 進行に伴い、介助・介護が必要になり、重度になると1日24時間、介助・介護者が必要な場合があります。

 J-RARE

目的・意義

調査の目的・意義

- 遠位型ミオパチー患者の介助・介護へのニーズの内容を把握することを目的とした調査を行う。
- 症例が少ないために日々の生活で介助・介護について配慮を得にくい事柄があると考えられる。
- 本調査はそうしたギャップを洗い出し、介助・介護者等の関係者向けのインストラクションを作成することを予定している。

 J-RARE

調査の方法

 J-RARE.net

調査の方法（1） 二段階の調査①

方法

- 二段階の調査
 - 第一の調査
 - 介助・介護へのニーズを洗い出す。
 - 患者は日々の生活の上で介護者など周囲の人々に分かってほしいが分かってもらいにくいと感じていることを自由記述する。
 - J-RARE上に回答フォームを作成し、オンライン上で回答を行ってもらう。オンライン上での回答ができない者に対しては、郵送にて対応する。

 J-RARE

調査の方法（2） 二段階の調査②

方法

– 第二の調査

- 第一の調査の結果から、介助・介護へのニーズを分類・選択し、質問を作成。
- どの程度該当者がいるか、各ニーズの充足の度合いによって患者のQOLがどのように変化するか、量的・横断的に調査する。

調査の方法（3） 二段階の調査③

方法

– まとめ・インストラクション作成

- 第二の調査の結果を踏まえて介助・介護者等の関係者向けのインストラクションを作成。
- 関連事業所に配布したり、PADMのWebサイトからダウンロード可能としたりすることにより、患者や介護者等のQOL向上等に広く活用されることを目指す。

調査の方法（４） 対象①

方法

- 対象
 - 包含基準
 - 遠位型ミオパチーと診断された患者
 - PADMの会員
 - 16歳以上の患者
 - 除外基準
 - 知的障がいと診断された患者

 J-RARE

調査の方法（５） 対象②

方法

- ※除外基準：知的障がいと診断された患者
知的障がいがあると、無い場合と比べ、介助・介護へのニーズが大きく変わってくると思われるため（研究分担者 NCNP 森まどか医師より。
なお、森医師には適宜、状況報告）
- ※患者本人での回答が難しい場合
PC入力や筆記が出来ない場合、本人の認める第三者のサポートによる回答を可能とする（サポートとは、本人の回答をその通りに代筆することのみを指す）

 J-RARE


方法

調査の方法（6）

実施期間・データ取得方法

- 実施期間
 - 第一の調査：2017年4～5月 1か月程度
 - 第二の調査：2018年度 1か月程度

- データ取得方法
 - J-RARE あるいは 郵送



方法


調査の方法（7）

質問内容（第一の調査）

- 質問内容（第一の調査）
 - 基本情報
 - 日常生活での介助・介護が必要な場面での、患者本人の現在の具体的なニーズについて（自由記述）

【回答例】

- 食事のとき、こちらの動作を予測して少しだけ先回りしての介助を心がけてもらえるとスムーズに食事がとれて嬉しい
- 額に髪の毛一本でも落ちてると不快で苦痛であることを理解してほしい



方法

調査の方法（８） 質問紙内容（第二の調査）

- 質問紙内容（第二の調査）
 - 基本情報
 - 第一の調査で出てきたニーズについての充足状況（量的な調査）
 - QOLの状況
 - ※ニーズ充足度とQOLの状況の相関についても解析する

 J-RARE

方法

調査の方法（９） 同意・同意撤回の方法、匿名化の方法

- 同意・同意撤回の方法
 - アンケート送信後の回答に関しては、回答者が撤回をしたいと思った時点で事務局に同意撤回の旨を伝え、同意撤回ページへのリンクを教えてください、入力・送信する
- 匿名化の方法
 - 連結可能匿名化

※第一の調査、第二の調査共通
※郵送の場合も上記に準じる

 J-RARE

調査の方法（10） 倫理的配慮

方法

- 倫理的配慮
 - 回答に先立ち、回答者には、手順や倫理的配慮を記した説明ページをよく読んでもらい、続く同意書ページにて、研究協力への同意をとる
 - 同意撤回をしたい場合は、J-RARE事務局に連絡し、送られてきたリンク先の同意撤回ページに記入、送信する。
 - プライバシーが保護されたかたちでアンケートをとり、アンケートの結果から個人が特定されないように十分注意する。
- ※第一の調査、第二の調査共通
※郵送の場合も上記に準じる

 J-RARE

進捗過程

 J-RARE.net

進捗過程

予備調査まで

- 16年初頭
 - 第二弾調査について P A D M 内で検討
- 4月
 - 介助アンケート調査案を J - R A R E 側に提出
- 6-7月
 - J - R A R E 担当チーム（姉御・江本）と P A D M 担当者（織田・若宮）と意見交換複数回実施・調査実施に向けた予備調査実施決定

 J-RARE

進捗過程

予備調査（1）

- 4月に P A D M 側で作成したアンケート案は行政対応を把握することが主な目的となっており、回答数が少ない場合有意差が出ない可能性が高い
- まずは課題を抱えている対象者にヒアリング調査を実施し、どういう調査内容・手法が適切か検討する（予備調査）

 J-RARE

進捗過程

予備調査（2）

- 目的
 - PADM患者会会員（原則）を対象とした介護サービスに関する調査の手法ならびに項目を検討するためのヒアリング調査
- 対象者
 - PADMが推薦したPADM会員5名
- 質問内容
 - 病気の状況
 - 発症してからの年数
 - 症状の状態ならびに経年変化
 - 介護状況
 - グレード・サービス内容・福祉機器利用状況（経年変化）
 - その他
 - 困っていること・満足していることなど現在のお気持ち
 - ヘルパーさんとの関係についてのご意見
 - こういったサービスがあればいいのに、といったご意見
 - など

 J-RARE

進捗過程

予備調査（3）

結果①

- 5人の共通意見
 - ヘルパー不足（確保）
 - ヘルパーの質
 - 睡眠時不安 見守りの必要性・給付時間の増加（100%24時間は誰もいない）
 - 進行にともなって給付時間の増加や福祉機器のリニューアルあり
 - 事業所の対応
 - 進行による対応

 J-RARE

予備調査（４） 結果②

進捗過程

- 5人が異なった意見
 - 移動時の対応（市外移動と市内移動や家族帯同の違いもあるか？）
 - PC周り（人によっては必要性も感じていない）
 - 行政の対応
 - 介護視点からの家族との関係（頼りにしまくり・自立を目指す・頼りにしない）
 - ヘルパーの育成
 - ケーススタディとして共有できるのかも

 J-RARE

予備調査（５） 結果③

進捗過程

- 5人があまりあげなかった意見
 - 医師のこと（そもそも通院機会が少なく話題にのぼらない）
 - 検査結果や福祉機器使用判断以外にはあまり価値がないのか？
 - 食事
 - 加齢による症状増加（通院科が多いくらい）
 - リハ先生へのコメント（生活のうえでは大して必要ない？）
 - 他の患者の状況把握（しているようでしていない・情報がクリアではない・不確かなものも多い）
 - ミオパチーという病気をヘルパーにあまり説明していない

 J-RARE

予備調査（6）

結果④

進捗過程

- インタビュアーが印象に残ったこと
 - 首がかくんとするのは言われないと気づかない
高齢者では起こらない現象？ミオパチー由来？
 - 寝ている時身動きがとれないと終わりというコメント 見守り
 - 見守りの重要性 ヘルパーの質につながる
 - 自分らしさを出すのはわがままか
 - 車いすだって外にでてもいいよね
 - ヘルパーは家族でも友人でもないのだから心を開かない → 自分をわかってもらうための第一ステップとしてのインストラクションがあってもいい？

 J-RARE

予備調査（7）

結果⑤

進捗過程

- 結果を受けての、J-RARE側からの提案
 - 本調査では二段階調査を実施する
 - 第一の調査
 - ニーズの洗い出し・患者はヘルパーに何をわかってほしいか・何を伝えたいか形式自由記述（有意差はでないが匿名回答価値はある）
 - グレード別に自由記述を書いてもらう
 - 第二の調査
 - ニーズがいかに満たされているか・QOL量的な調査
 - 結果を踏まえて、特にこのニーズ、みたいなインストラクションを患者会として作成。関連事業所に配布・患者会からDL可能とするなどを想定

 J-RARE

進捗過程

第一の調査の準備（1）

- 2016年8～10月
- 以下の資料を準備する形で進行
 - 倫理審査申請書
 - 質問ページの内容
 - 説明ページの内容
 - 同意ページの内容
 - 同意撤回ページの内容 ※倫理審査中に追加

 J-RARE

進捗過程

第一の調査の準備（2） 主な検討事項①

- 類縁疾患について
 - 類縁疾患患者を入れると回答数が多くなり、統計の質が上がる
 - Webフォームによる調査ならば簡便に実施できるが、J-RARE対象疾患以外は、なりすまし行為が容易
 - Webを使わないならば、回答募集に医師や他患者会などを巻き込む形しかとりえない。
- 今回は基礎的な調査のため、PADMでのみ実施とし、類縁疾患は見送り。

 J-RARE

第一の調査の準備（3） 主な検討事項②

進捗過程

- 「回答サポート」について
 - 重度になると、PC入力や筆記ができない場合もある
 - しかし、ヘルパーに関することを患者本人が記述したいと思った時に、そのヘルパーが回答をサポート（=入力の代行や代筆）するのは問題では？
 - 確かにその通りだが、現実的にそれを避けるのは難しい。患者本人が大丈夫と思う人を選ぶしかないのでは。

 J-RARE

第一の調査の準備（4） 主な検討事項③

進捗過程

- 「介助・介護」という用語について
 - 介護
 - 「介護保険」「居宅介護」など行政サービスには、こちらが使われる場合が多い。
 - 目的に「身体的、精神的、また社会的に自立した生活」、ゆえに「社会的サポート」も含むとされる
 - 介助
 - 「日常生活の行動を直接的に援助するという身体的な動作」という意味合いが強い
 - 併記することとした

 J-RARE

第一の調査－倫理審査（１）

主な指摘事項①

進捗過程

- アンケート回答者について
 - 審査結果コメント
 - 「代理回答」は患者さんの意見の収集とは意味が違うので含めるのは望ましくない。もし介助者等の意見も収集したければ、その様な設定にすべき
 - 申請書に「第三者による代理回答」「回答サポート」等の記載があり、その意味するところの説明不足でもあったが、整理不足でもあった。
 - 回答内容を考えるのは、患者本人のみ、その他、回答に関与するのは、入力／代筆のみを行う「回答サポート者」のみと整理

 J-RARE

第一の調査－倫理審査（２）

主な指摘事項②

進捗過程

- 同意の取得対象
 - 荻島研究代表者コメント
 - 同意書にある「私」とは患者本人を意味して、回答サポート者の同意書とはならないのではないかと
 - ※この時点では、患者本人と回答サポート者双方の同意をとることになっていた
 - 同意書の対象者について次ページのように整理

 J-RARE

第一の調査 – 倫理審査（3）

主な指摘事項③

進捗過程

- 同意の取得対象者の整理
 - 誰が回答するのか（責任の所在）と同意書を1：1で作成

誰が回答するのか	同意書の対象者	本調査に該当するか
(本人の意見)本人が本人の意思を	本人	する
(本人の意見)本人の意思を誰かがサポート =「私」は「本人」で一致している	本人	する
(介助・介護者の意見) 介助・介護者が介助・介護者の意思を	本人 介助・介護者	しない

 J-RARE

第一の調査 – 倫理審査（4）

主な指摘事項④

進捗過程

- 同意撤回のタイミング
 - 審査結果および荻島研究代表者コメント
 - 郵送の場合の同意関係手順が不明瞭、また、同意撤回が回答送信／郵送以降はできないとは何故か
 - 郵送の場合、連結不可能匿名化との認識違いがあり、また、二段階調査であるが第一の調査にも連結可能匿名化が必要かの認識について、混乱が発生していた。
 - Web版、郵送版とも、全て連結可能匿名化とし、回答後にも、いつでも同意撤回可能と修正。また、郵送版の資料を追加。

 J-RARE

今後の計画

今後の計画

- 第一の調査
 - 実施 ～2017年5月8日
 - ※4月29日 PADM総会
 - 解析
- 第二の調査
 - 準備 ※第一の調査実施中に進めておく
 - 倫理審査
 - 実施
 - 解析
 - インストラクション作成・公開・配布

 J-RARE

今後の計画

若宮有希より

こんにちは。PADM 遠位型ミオパチー患者会の若宮です。

報告でもあったように、介助・介護は、遠位型ミオパチーがある程度進行した患者には、切っても切り離せないものです。

制度や環境、介助・介護者とのやり取り等々において、難しさがあり、実態調査が必要と考えていましたが、今回、統計の専門家に入っていただくことにより、有効な調査とする方向が見えて来たと思います。

倫理審査は、本当に大変でしたが、気づかなかった点に気づき、完成度が高いものとなりました。

 J-RARE