

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）
分担研究報告書

ムコ多糖症（MPS）I型診療ガイドラインの作成

研究分担者 今中常雄 広島国際大学薬学部 客員教授

昨年度に引き続き、ムコ多糖症（MPS）I型診療ガイドラインの作成に取り組んだ。MPSI型の病態、疫学、診断をBackground Questionとし、CQは酵素補充療法と造血細胞移植について取り上げた。1次スクリーニングの関連論文を追加し、アウトカムの内容（益もしくは害）、重要度を考慮した2次スクリーニングを行った。システマティックレビューを経て、推奨文の改訂と確認を行なっている。次年度、MPSI型の診療ガイドラインを発刊する。

研究分担者氏名・所属研究機関名及び所属研究機関における職名

（省略）

A．研究目的

客観的な評価に基づくムコ多糖症（MPS）I型診療ガイドラインを作成し、早期診断、早期介入ならびに適切な治療法の選択を可能にする。

B．研究方法

関連論文を1次スクリーニングし、アウトカムの内容、重要度を考慮した2次スクリーニングを行う。システマティックレビュー（SR）を経てCQの推奨文を検討し、エキスパートオピニオンを加え、診療ガイドラインを作成する。

（倫理面への配慮）

学内倫理委員会の承認のもとに調査研究を進めた。

C．研究結果

病態、疫学、診断をBackground Questionとした。CQは、治療の中で酵素補充療法と造血細胞移植を取り上げ、9項目とした。SR委員が、各CQについて有用なエビデンスをピックアップした。これらの結果を踏まえ、推奨文を検討した。ついで、診療ガイドラインを完成させる。

D．考察

本ガイドライン作成にあたっては、文献によるエビデンスとSR、国内エキスパートオピニオン（特に造血細胞移植に関して）も考慮して進めた。

E．結論

MPSI型ガイドラインの作成に当たっては、希少疾患の特異性も考慮した上での作成を目指した。SRによる適切な推奨文とエキスパートオピニオンに基づき、早期診断、早期介入ならびに適切な治療法の選択が可能となる。

F．健康危険情報

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

（予定を含む。）

1. 特許取得
なし

2. 実用新案登録
なし

3. その他
なし

作成上の留意事項

1. 「A. 研究目的」について
 - ・厚生労働行政の課題との関連性を含めて記入すること。
2. 「B. 研究方法」について
 - (1) 実施経過が分かるように具体的に記入すること。
 - (2) 「(倫理面への配慮)」には、研究対象者に対する人権擁護上の配慮、研究方法による研究対象者に対する不利益、危険性の排除や説明と同意(インフォームド・コンセント)に関わる状況、実験に動物に対する動物愛護上の配慮など、当該研究を行った際に実施した倫理面への配慮の内容及び方法について、具体的に記入すること。倫理面の問題がないと判断した場合には、その旨を記入するとともに必ず理由を明記すること。

なお、ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針(平成25年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号)、人を対象とする医学系研究に関する倫理指針(平成26年文部科学省・厚生労働省告示第3号)、遺伝子治療等臨床研究に関する指針(平成27年厚生労働省告示第344号)、厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針(平成18年6月1日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知)及び申請者が所属する研究機関で定めた倫理規定等を遵守するとともに、あらかじめ当該研究機関の長等の承認、届出、確認等が必要な研究については、研究開始前に所定の手続を行うこと。
3. 「C. 研究結果」について
 - ・当該年度の研究成果が明らかになるように具体的に記入すること。
4. 「F. 健康危険情報」について
 - ・研究分担者や研究協力者の把握した情報・意見等についても研究代表者がとりまとめて総括研究報告書に記入すること。
5. その他
 - (1) 日本工業規格A列4番の用紙を用いること。
 - (2) 文字の大きさは、10～12ポイント程度とする。