

演題名; 神経難病とガイドライン: 稀少性疾患の診療ガイドライン作成

氏名; 小島原典子

所属; 東京女子医科大学 衛生学公衆衛生学

要旨

希少疾患では信頼できるエビデンスが乏しいため科学的根拠に基づいて診療ガイドラインの推奨を提示できないことが多い。疾患定義、診断基準が明確になっていない場合には、特に診療ガイドラインの作成は困難であるが、限られたエビデンスを集約し、最善の方針を提示する方法について概説した。

基本的には GRADE アプローチを用いてシステマティックレビューを行ない、益と害のバランスの評価等に基づいて推奨を決定する。他の疾患同様、診療ガイドライン作成の全過程を通じて、作成の厳密さ、作成過程の透明性の確保に留意する。

A. 研究目的

厚生労働省は、患者数が少ない希少疾患を指定難病として重点的に研究を進めている(平成26年 難病法)。

B. 作成方法

海外では GRADE ワーキンググループなども関わって希少疾患に対する診療ガイドラインの作成について検討が進められてきているが、希少疾患のみに特有の診療ガイドライン作成方法が提案されているわけではない。システマティックレビューレビューチーム、COI の管理、患者参加、外部評価の方法を含めた作成方法を予めスコープで計画する。

(倫理面への配慮) 該当せず。

1. クリニカルクエスション(CQ)の設定

全国調査の成績、患者登録のデータなどを元に、疾病の自然史を把握し、重要臨床課題を抽出する。

2. 文献検索

海外の特定地域などに偏在する場合も考慮して、英文以外の研究論文の検索と入手も考慮する。

3. システマティックレビュー

検索の結果、症例報告、症例集積のような論文しか

入手できない場合には、バイアスリスクの評価などに努力を傾けるよりも、全体として、どこまでのエビデンスが得られているかについて、定性的なシステマティックレビューを行う。

4. 推奨作成

エビデンス総体の強さ、益と害のバランス、患者の価値観・希望を考慮し、コスト・資源についても評価する。

5. future research question

エビデンスが極めて乏しく、ガイドライン作成グループによる合意形成プロセスでも 合意に達しないCQでは、推奨を作成せずに、臨床研究推進の提言に留めることも考慮する。

C. 文献

1) Minds 診療ガイドライン作成マニュアル 2017

https://minds.jcqhc.or.jp/s/guidance_2017

2) GRADE (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation system)

<http://www.gradeworkinggroup.org/>

3) Pai, Menaka, et al., 2015, "Developing methodology for the creation of clinical practice guidelines for rare diseases: A report from RARE-Bestpractices," Rare Disease, 3:1, e1058463.