

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）
分担研究報告書

痙攣性発声障害疾患レジストリを利用した診断基準及び重症度分類の妥当性評価と改訂に関する研究

研究分担者 溝口兼司 北海道大学・助教

研究要旨：診断の感度・特異度と重症度分類の臨床的意義の評価のための研究実施計画書を作成するとともに、全国 135 医療機関の研究参加が決まった。また研究計画変更に伴い EDC システムの改修を終了し、症例登録を開始した。

A. 研究目的

痙攣性発声障害は、声を出すために重要な内喉頭筋の不随意収縮により発話中に音声の異常をきたす原因不明で根本治療のない稀少難治性疾患である。痙攣性発声障害は指定難病の指定にいたっておらず患者は医療費や生活に多くの負担を強いられている。指定難病に至っていない要因の一つに診断基準および重症度分類の妥当性評価が行われていないことが挙げられており、本研究は痙攣性発声障害疾患レジストリを活用して、痙攣性発声障害診断基準および重症度分類の妥当性評価を行い、世界をリードする診断基準・重症度分類へ改訂作業を行うことを目的とする。

B. 研究方法

1) 疾患レジストリデータ活用のための研究デザイン・解析方法の検討。2) 疾患レジストリを用いた診断の感度・特異度の評価。3) 疾患レジストリを用いた重症度分類の臨床的意義の評価。4) 診断基準及び重症度分類の改訂を柱とする。

（倫理面への配慮）倫理的精神に基づき、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」、「個人情報保護に関する法律」、「独立行政法人等の保有する個人情報の保護に関する法律」及び関連する法令、改正法令、研究実施計画書を遵守して実施する。

C. 研究結果

診断の感度・特異度と重症度分類の臨床的意義の評価のための研究実施計画書を作成するとともに、全国135医療機関の研究参加が決まった。また研究計画変更に伴いEDC（Electronic Data Capture）システムの改修を終了し、症例登録を開始した。

D. 考察

痙攣性発声障害診断基準および重症度分類の妥当性評価可能なレジストリ基盤が完成した。

E. 結論

今後症例登録データを解析し、診断の感度・特異度の評価および重症度分類の臨床的意義の評価し改訂作業を開始する。

F. 研究発表

1. 論文発表
 - 1) Hyodo M, et al: Botulinum toxin injection into the intrinsic laryngeal muscles to treat spasmodic dysphonia: A multicenter, placebo-controlled, randomized, double-blinded, parallel-group comparison/open-label clinical trial. Eur J Neurol, 2020.
 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