

【PRO (patient reported outcome) の検討と  
ICT (information and technology) 化に関する研究】

令和2年度厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業  
(免疫アレルギー疾患等政策研究事業(免疫アレルギー疾患政策研究分野))  
難治性・希少免疫疾患におけるアンメットニーズの把握とその解決に向けた研究  
分担研究報告書

PRO (patient reported outcome) の検討と ICT (information and technology) 化に関する研究

研究分担者：

平野 亨	大阪大学大学院 医学系研究科 講師
森 雅亮	東京医科歯科大学大学院 医歯薬学総合研究科 教授
山路 健	順天堂大学大学院 医学研究科 寄附講座教授
吉藤 元	京都大学 医学部附属病院免疫・膠原病内科 病院講師
宮前 多佳子	東京女子医科大学 医学部 准教授
西小森 隆太	久留米大学 医学部小児科 教授
井澤 和司	京都大学大学院 医学研究科発達小児科学 助教
岸田 大	信州大学 医学部附属病院 助教

研究協力者：

井上祐三朗	千葉県こども病院 アレルギー・膠原病科 主任医長
住友 秀次	神戸市立医療センター中央市民病院 総合内科 医長
檜崎 秀彦	日本医科大学 小児科学教室 准教授
神戸 直智	京都大学大学院 医学研究科・医学部皮膚科学 特定准教授
横川 直人	日野市立病院 総合研究科 部長／東京都立多摩総合医療センター リウマチ膠原病科 医長
井上 満代	兵庫医療大学 看護学部看護学科 講師
向井 知之	川崎医科大学附属病院 リウマチ・膠原病教室 准教授
川邊 智宏	東京女子医科大学膠原病リウマチ痛風センター小児リウマチ科 後期臨床研修医
盛一 享徳	国立成育医療研究センター研究所 小児慢性特定疾病情報室 室長

研究要旨

難治性・希少免疫疾患におけるアンメットニーズの把握のため、包括的および疾患特異的尺度 patient reported outcome (PRO) を選定し、その効率的な収集・解析のため ICT (information and communication technology)を用いた評価方法を構築した。当研究に参画する16名の医師・看護師に対しアンケートを行い、小児科、内科、皮膚科、看護分野の各々の視点を踏まえ PRO の選定を進めた。本研究課題である難治性疾患、希少性疾患について、小児領域、成人領域の各々より抽出した。包括的尺度のうち、小児 QOL として、KINDL、KIDSCREEN、DISABKIDS (DCGM37)、DISABKIDS for JIA、PedsQL、RTP、Mind the Gap Scale、PROMIS Global Health Assessment が、成人 QOL として、SF36v2、EQ5D、WEMEBS、COPM、PRAS、SILS、DLQI、PCS、PSEQ、VFQ11、また疾患特異的尺度のうち、成人 QOL として、LupusPRO、Lupus impact tracker、SSC、MDHAQ/RAPID3、FMF50、FMFQoL、ESSPRI の計25指標が提案され、それらの意義、適応疾患、適応年齢、実施可能性が議論された。次年度以降の患者会での評価に使用しうるものとして、小児では KINDL、EQ-5D-Y を使用し、さらに PedsQL の追加についても検討を行う予定である。成人では、SF36、EQ-5D が選定された。新規の指標作成はバリデーションを含む研究計画上、困難と判断した。多くの指標で、対象疾患、対象年齢、回答への負担、利用許諾、ICT化などを検討した結果、現状では実施可能性の高い指標が最終的に限定され、次年度以降の研究にはこれらを優先的に適用する方針とした。疾患特異的尺度についても今後、検討を継続し、自由記載を利用したテキストマイニング手法についても検討を行う予定である。

## A. 研究目的

難治性・希少免疫疾患患者では、医療の内容、質や医療費等のアンメットメディカルニーズ (UMN)のみならず、食事や運動、睡眠などの日常生活、妊娠・就学などのライフイベント等、様々な場面においてアンメットニーズが存在するが、その現状は必ずしも十分に把握されていない。自己免疫疾患・血管炎症候群・自己炎症性疾患において UMN を把握することを目的に、これらの疾患に有用と思われる全般的および疾患特異的 patient reported outcome (PRO)を選定し、その効率的な収集・解析のための ICT (information and communication technology)を用いた評価方法を構築について検討することを目的とした。

## B. 研究方法

当研究に参画する 16 名の医師・看護師が情報収集を行い、小児科、内科、皮膚科、看護分野の各々の視点を踏まえ PRO 尺度の選定を行った。特に本研究課題である難治性疾患、希少性疾患に有用と思われた尺度について、小児領域、成人領域の各々から抽出した。

(倫理面への配慮) 本研究は公開されている情報による検討であり、倫理面への配慮は不要である。

## C. 結果

包括的 QOL 尺度の検討:小児領域においては、KINDL、KIDSCREEN、DISABKIDS (DCGM37)、PedsQL、RTP (Rotterdam transition profile)、MGS (Mind the Gap Scale)、PROMIS (Patient-reported outcomes measurement information system) Global Health Assessment、EQ-5D-Y などが候補として挙げられたが、日本語版の妥当性検証が終了しているもの、既報告との比較検討が可能であるもの、本邦における標準値が公表されているもの、などの条件を検討した結果、小児領域における包括的尺度としては、KINDL、EQ-5D-Y、PedsQL を最終的に選定した。同様に成人領域においては、F36v2、EQ-5D、WEMEBS、COPM、PRAS、SILS、DLQI、PCS、PSEQ、VFQ11 が候補として挙げられ、最終的に、SF36v2 および EQ-5D-5L を選定した。

疾患特異的尺度の検討:小児領域ではほとんど利用可能な尺度が存在せず、現在日本語版の妥当性が検証中である PedsQL リウマチモジュールの利用が候

補として挙げられた。成人領域では、LupusPRO、Lupus impact tracker、SSC、MDHAQ/RAPID3、FMF50、FMFQoL、ESSPRI が候補として挙げられた。

小児領域と成人領域とで共通した QOL 尺度の適用については、年齢により最適な質問項目が異なっていることが多いこと、小児では成人と比較して日本語版の妥当性検証が完了している尺度が少ないことなどから、全く同一の指標を使用することは困難と判断された。この条件に最も近い尺度として、小児における EQ-5D-3L/5L の proxy 版が挙げられた。

## D. 考察

国内外における主に健康関連 QOL 尺度に関し情報を収集し、本研究班の研究対象疾病において利用可能な尺度について検討を行った。今回の検討では、アンメットニーズに対するアウトカム評価の指標としての健康関連 QOL 尺度の利用可能性について検討を行った。

健康関連 QOL 尺度には、包括的尺度と疾患特異的尺度が存在するが、病勢の評価だけではなく患者の満足度や一般国民との比較も視野に入れる必要があることから、包括的尺度の利用を中心に、疾患によっては疾患特異的尺度が存在することから、そちらの利用についても検討を行った。諸外国では様々な健康関連 QOL 尺度が存在するが、本邦で利用する場合には、日本語版の妥当性検証が行われている必要があり、日本語版が利用可能な尺度は限られていることがわかり、日本語版の妥当性検証が完了している尺度の中から、本研究班の研究対象疾病に利用可能な尺度を選定した。

成人とは異なり小児領域における尺度の利用では、小児本人からの回答取得に年齢的な限界があり、年齢によっては、保護者等からの代理回答を利用する必要がある。一般的に中学生以降では本人回答でも再現性が確認されるが、小学生以下では再現性が乏しくなるため代理回答の方が、方法的には望ましい結果となる。一方で代理回答では身体的評価は本人回答と同等の結果となるが、心理・精神的な評価では本人回答と代理回答では結果が乖離する傾向にあると言われていることから、最終的にはアンメットニーズ調査の対象年齢と評価項目(精神的な側面をどの程度重要視するか)によって、回答取得方法を選択する必要があると思われた。

成人において候補となった包括的健康関連 QOL

尺度は、過去に様々な領域で利用されている SF36v2 および EQ-5D-3L/5L が選択された。SF36v2 は、日本語版の妥当性検証およびわが国の標準値が公表されており大きな利点がある一方、質問項目がやや多いこと、そのままでは効用値の計算ができないこと、紙媒体以外の調査（ICT を利用した調査）実績がないことが欠点としてあげられる。EQ-5D は効用値が直接計算でき、ICT を利用した調査実績もあるが、項目が非常に少ないため、本研究班の研究対象疾患において天井効果が生じる可能性があることが懸念され、調査目的によって使い分けもしくは同時利用を検討する必要があるであろう。

疾患特異的 QOL 尺度で、日本語版が存在し最も利活用の可能性があるものとして、LupusPRO 等が考えられた。他の研究対象疾患においては、疾患特異的尺度が開発されていないものも多く、本研究班では調査対象疾患に応じて、使い分けが必要であると思われる。

小児領域と成人領域と共通の尺度で評価すべきか検討を行ったが、患者本人の価値観が経時的に不偏ではないこと、年齢階層ごとに価値観が異なること、等から無理に同一尺度を利用する必要はないように思われた。

## E 結論

健康関連 QOL 尺度の利用可能性についての検

討をおこなった。小児領域では包括的尺度として KINDL、EQ-5D-Y、PedQL が候補となり、成人領域では SF36v2、EQ-5D-5L が候補となった。今後さらに疾患特異的指標についても検討を継続するとともに、UMN を見いだすため、患者の生活実態や満足度に関する調査のための質問票を検討する。また自由記載を利用したテキストマイニング手法についても検討する。

## F 健康危険情報

なし

## G 研究発表

なし

### 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