

希少疾患における診療ガイドラインの作成方法

研究分担者 小島原 典子 静岡社会健康医学大学院大学社会健康医学科教授

研究要旨：エビデンスが少ない領域での診療ガイドライン作成の課題を整理し、我が国の難治性疾患の診療ガイドラインの作成方法を提案することを目的とする。方法：国内の動向として、Minds診療ガイドライン作成マニュアル2020の改定の要点をエビデンスが少ない領域に応用する場合の課題を整理する。また、海外の動向として、GRADE working groupなどの文献レビューを行う。

希少疾患でも診断基準が明確で治療介入に関する研究が発表されている場合は、GRADEアプローチを用いた診療ガイドライン作成が可能である。Minds 診療ガイドライン作成マニュアル 2020 に沿って、エビデンスの乏しい領域における診療ガイドライン作成の課題を整理し、対応を提案した。

A. 研究目的

エビデンスが少ない領域での診療ガイドライン作成の課題を整理し、我が国の難治性疾患の診療ガイドラインの作成方法を提案することを目的とする。

B. 研究方法

国内の動向として、Minds診療ガイドライン作成マニュアル2020の改定の要点をエビデンスが少ない領域に応用する場合の課題を整理する。また、海外の動向として、GRADE working groupなどの文献レビューを行う。

（倫理面への配慮）

倫理審査の対象外である。

C. 研究結果

希少疾患でも診断基準が明確で治療介入に関する研究が発表されている場合は、GRADEアプローチを用いた診療ガイドライン作成が可能である。エビデンスの乏しい領域では、Minds 診療ガイドライン作成マニュアル 2020 のうち、特に以下に留意が必要である。

- 1) Good practice statement (GPS) を考慮する。
- 2) 無作為化比較試験 (RCT) がなく、限られた症例数の観察研究やケース・シリーズからエビデンスを抽出する場合は、可能な範囲で文献を評価する。
- 3) 限られたエビデンスからでも、evidence to decision (EtoD) framework を用いて推奨を作成することは可能である。
- 4) スコープ作成時にスコーピングサーチを行い、海外の診療ガイドラインや、既存のシステムティックレビューが全くない場合は、クリニカルクエスチョン設定時、遅くともシステムティックレビュー開始時に診療ガイドライン作成を進めるかどうかを慎重に判断するべきで

ある。

- 5) 特定の専門家のみで作成することのないよう、学際的なメンバー構成とする。
- 6) 資金源、利益相反を開示したうえで、作成過程で外部評価（特にパブリックコメント）を受ける機会を積極的に設ける。

D. 考察

希少疾患の診療ガイドラインに作成においては、これらの判断をする時期、疾患定義も含めてスコープを綿密に作成することが重要である。学会で作成する場合でも、研究班で作成する場合でも、各ステップの進捗を管理する事務局機能が重要であることを強調したい。エビデンスが乏しい領域では、クリニカルクエスチョンとして網羅的文献検索を実施しても研究がない場合、Future research question (Future research recommendation とも言う) として整理することも大きな意義がある。

E. 結論

定量的統合(メタナリシス)ができない場合でも、定性的システムティックレビューを行い、エビデンスに基づいて推奨を記載されていれば、科学的根拠に基づく診療ガイドラインとして十分評価される。

F. 健康危険情報 なし

G. 研究発表 なし

H. 知的財産権の出願・登録状況該当なし