

難病研究のレジストリ、全国疫学調査、リアルワールドデータ活用研究の経験

石川秀樹

(京都府立医科大学 分子標的予防医学)

【研究要旨】

本研究班の今後の班活動の参考のため、研究者の石川秀樹がこれまでに経験した難病研究のレジストリ研究、全国疫学調査、レセプトを用いたリアルワールドデータを活用した研究を班会議で報告した。

A. 研究目的

本研究班の今後の班活動の参考のため、研究者の石川がこれまでに経験した難病研究のレジストリ研究、全国疫学調査、レセプトを用いたリアルワールドデータを活用した研究を班会議で報告する。

B. 研究方法

スライドにて、石川が経験した研究についての概略を紹介し、それらの研究において得られた知見を紹介するとともに、主に研究実施における苦労した点や問題点、限界などを紹介する。

(倫理面への配慮)

紹介した研究はすべて、その時代に応じた倫理指針の承認を得て、関与する医療機関の長の実施許可を得て行われた。オプアウト研究では、適切に研究内容をホームページ等で公開した。オプトイン研究では、適切なインフォームドコンセントをおこない、暴威を得てから実施した。

C. 研究結果

難病研究のレジストリに関しては、IgG4 関連疾患(厚労省難病班 AMED プラットフォーム利用)、Cowden 症候群(厚労省難病班、日本遺伝性腫瘍学会部会助成金費用、FAX 使用)、鋸歯状ポリポーシス症候群(日本消化器内視鏡学会助成金、日本遺伝性腫瘍学会助成金部会費用、FAX 使用)、大腸腺腫性ポリポーシス疾患(AMED 武藤倫弘班費用、FAX 使用)で実施または準備中のレジストリを紹介した。

難病研究の全国疫学調査については、石川が関与した IgG4 関連疾患、結節性多発性動脈炎、慢性再発性多発性骨髄炎、小児期発症強皮症、消化管が誤腫性腫瘍好発疾患(ポイツ・イエガー症候群、若年性ポリポーシス症候群)について紹介した。

レセプトデータ(JMDC、MDV から購入))によるリアルワールドデータ研究については、大腸内視鏡検査の偶発症頻度の推定や降圧剤による前立腺癌抑制効果の研究成果を報告した。

D. 考察

難病のレジストリ研究は、長期間にわたり継続することが重要であり、班が終了したら、データが消失するようなことのないように、国や学会が主体となり、永続して運営できるシステムが不可欠と考える。しかし、AMED レジストリプラットフォーム(RADDAR-J)は、使用料が高額であり、厚労省の難病班の研究費で維持することは困難だけでなく、班の継続がなくなれば、そのレジストリの維持はできなくなる。少なくとも厚労省の難病班については、このレジストリプラットフォームが無料で使えるようになることが望ましいと考える。

レジストリのプロトコルの作成の初期段階から、疫学者が参加することが望ましいと思われる。また、論文化のスケジュールや方法、共著者等については、最初に決めておくことが望ましい。

さらに、追跡不能例について、住民票や死亡個票と容易に照会できる仕組みについての法整備を希望する。

全国疫学調査については、生命・医学系指針(新指針)になってからは、二次調査は主研究施設の倫理審査委員会にて一括審査を行い、承認を得てから、各施設の実施許可を得て行うのが効率的と思われた。また、共同研究者については、データを収集する臨床医にも十分に考慮した検討が必要と思われる。

二次調査におけるオプトアウトでの遺伝学的情報の収集の方法等について、本研究班で方針を決めることができれば多くの研究班の研究に有用と思われた。

最近になりウェブ(グーグルアンケート、メール)のツールが使いやすくなってきているため、それらを活用した調査を開発し、その手法が多く班で共有できると良いと思う。しかし、現時点では、全国の医療機関へのアクセスが住所しかないため、一次調査では、手紙やはがきでしかアクセスできないことが欠点である。また、診療科の名称がいろいろ変わってきているので、医療機関データベースの更新が重要と思われた。

レセプトデータを用いた研究においては、診断名や治療法のバリデーションが極めて重要であり、得られた結果の解釈には十分な注意が必要と考える。

E. 結論

これまでに石川が経験をした疫学調査について報告した。デジタルトランスフォーメーションが急激に進んでいる現在、過去の手法にとらわれず、より精度が高く簡便な方法を疫学者が率先して開発すべきである。

F. 参考文献

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

なし

3. 班会議

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業 難病疫学研究の適正推進に資する情報や知見の普及・啓発に関する研究 令和5年度 第1回班会議

H. 知的所有権の取得状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし