

厚生労働科学研究費補助金

難治性疾患克服研究事業

難治性疾患克服研究の評価
ならびに研究の方向性に関する研究

平成21年度 総括・分担研究報告書

研究代表者 千葉 勉

平成22(2010)年3月

厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患克服研究事業)
分担研究報告書

難治性疾患克服研究の評価ならびに研究の方向性に関する研究
—神経・筋疾患 (神経変性疾患に関する調査研究班)—

研究要旨

難治性疾患克服研究事業のひとつ、「神経変性疾患に関する調査研究班」について、様々な角度から評価を行った。その結果、平成 20 年度は 3 年間の班研究の初年度であるが、平成 19 年までの研究班から引き続く研究を含め、治療法の開発に結びつきうる基礎研究を含む多くの優れた研究が行われており、質の高い論文を発表していた。重症度分類、治療ガイドラインの策定には大きな進展はなかったが、今後の発展が期待される。

A. 研究目的

難治性疾患克服研究事業は、いわゆる難治性疾患と考えられる疾患群について、診断基準や治療ガイドラインの策定、さらに原因や臨床病態の解明などをおこなうことを主な目的としている。またこれらの疾患群の中で、治療に関して特別な配慮のもとに研究を遂行すべき疾患は、特定疾患治療研究事業として取り上げられている。本研究事業の対象疾患の多くは比較的長期にわたって研究班が存続して研究が継続されている。しかしながら難治性疾患も、common disease と同様、疾病の頻度や社会的ニーズが変化しており、このため難治性疾患克服研究事業の対象疾患や研究目的も変化しつつある。したがってこうした変化を的確に把握して、難

治性克服疾患研究事業が有効におこなわれるためには、各研究班の研究について、様々な観点から客観的評価をおこなうことが必要である。具体的には、「難治性疾患克服研究事業」における各研究班の臨床調査研究活動につき、学術的および行政的な観点から総合的な評価をおこない、研究活動の方向性をアップデートするのに有用な資料を作成することが必要である。そこで本研究では難治性疾患克服研究事業のうちの「神経変性疾患に関する調査研究」班の研究について、包括的な評価をおこない、今後の研究の方向性について提言することを目的とした。

B. 研究方法

(1) 本研究班から提出された 2008 年度の

報告書、及び本研究班が発表した論文、さらにアンケート調査を資料として本研究班の評価をおこなった。

- (2) 難治性疾患克服研究事業において作成された評価表を用いて、I. 研究の計画と取り組みについて、II. 研究内容と成果について、III. 研究発表、の3つの項目にわけ、それぞれの項目をさらに細分化して、a) 研究対象として選定している妥当性、b) 診断基準作成の有無、c) 診療ガイドライン作りへの取り組み、d) ロードマップに照らした進捗状況、e) 本研究事業と発表論文の整合性、f) 発表論文の成果、などについて評価した。
- (3) 本研究班に対して当班員以外の専門医も含めて複数の評価者による評価を行い、平均点を記載した。

C. 研究結果

I 研究の計画と取り組みについて

①疾患の定義および重要性

運動ニューロン疾患関連の3疾患(筋萎縮性側索硬化症:ALS、球脊髄性筋萎縮症:SBMA、脊髄性進行性筋萎縮症:SPMA)、パーキンソン病関連の3疾患(パーキンソン病:PD、進行性核上性麻痺:PSP、大脳皮質基底核変性症: CBD)、ハンテントン病:HD、および脊髄空洞症:SMの8疾患を対象としており、いずれも定義が確立されている(2/2)。昨年度も指摘したが、脊髄空洞症を「神経変性疾患」に

含めることに違和感があり、また班としての研究もほとんど進んでいないことから、対象から除外する、本疾患を多く扱う可能性のある脳神経外科医や整形外科医を研究者に含めるなどの対応を検討する必要がある。

②研究の目標、計画

研究目標は、治療法の開発(対症療法)の改善を含む)、担当疾患の調査研究、診断基準・機能評価方法の見直しと確立、と定められ、一定の計画が示されている(2/2)。

③発症率、有病率の把握(疫学研究)

発症率・有病率に関しては、ALSの臨床個人調査票の5年間の分析が行われた程度である。アンケート回答によると疫学班の支援による調査を準備中とのことである(1/2)。

④診断基準や重症度分類の策定

診断基準については、過去に策定されている(2003年度報告書に記載)。SPMAとSMの診断基準、SBMAとSPMAの重症度分類の策定を平成21年度に計画している(アンケート回答)(2/4)。

⑤治療ガイドラインの策定・改訂

治療ガイドラインは日本神経学会により2002年に策定されており、研究班は直接関与していない(0/2)。わが国への特殊性の配慮は特に行われていない(0/2)。

⑥難病情報センターなどへの公表

難病情報センターHPに行われうる治療

法とその根拠について記載され、特定疾患に関しては認定基準も明示されている(2/2)。

⑦関連学会等との整合性への努力

治療ガイドラインは学会主体で作成され、班員の一部が関与している(1/2)。

⑧他の研究助成との重複

他の研究助成との重複はない(2/2)。

II 研究内容と成果について

①研究計画の妥当性

研究対象となる疾患では、臨床にすぐに役立つ研究は困難であるが、臨床を視野に置いた研究が中心である(2/2)。

②研究計画の進捗状況

研究計画の進捗状況については、研究代表者が変わって初年度であるが、以前の継続研究を含めて順調に進んでいる(2/2)。

③研究代表者の指導性

報告書からは全体の研究計画が十分に見えてこないが、ワークショップの開催、十分な内容の班会議を開催しており、指導性が発揮されていると考える(2/2)。

④研究の成果に関して

全体に根本的な治療に役立つ具体的な研究成果は出ていないが、PD に対する薬物治療、ALS の治療薬開発に向けた基礎研究など治療に結びつきうる研究が行われている(2/2)。ALS の高次脳機能、PD に伴う姿勢異常の研究などは福祉に貢献しうる(1/2)。病因・病態解明にお

いては、全てのプロジェクトにおいて基礎研究を中心に目覚ましい成果が上がっている(4/4)。

⑤行政への貢献度

行政への貢献は現時点ではあまり期待できない(0/2)。

⑥研究の倫理性

倫理性は全体を通して遵守されている(2/2)。

III 研究発表

① 受理された成果発表

論文・発表数は十分である(2/2)。

②発表の質

論文・発表の質は十分である(2/2)。

③研究事業への適合性

事業への適合性に関しては、基礎研究に比重が多くあるが、実際の疾患治療に結びつく研究に関しても積極的に取り組まれている(2/2)。

④研究事業名の記載

本研究事業に基づくものであることの記載は約半数に行われている(1/2)。

⑤利益相反

明らかな利益相反はない(2/2)。

D. 考察

神経変性疾患に関する調査研究班において、とりあつかっている疾患は希少性、重症性、病因の不明性、社会的、医療経済的な問題点を包含することなど、難治性疾患として取り扱われるにふさわしい疾

患であるが、一部の疾患を含めることには検討の余地があると考えた。平成 20 年度は 3 年間の班研究の初年度であるが、平成 19 年までの研究班から引き続く研究を含め、多くの優れた研究が行われており、質の高い論文を発表している。特に基礎研究については治療法の開発に結びつきうるものが含まれており、今後の発展が期待される。個人調査票を用いた疫学研究も積極的に行われている。

重症度分類、治療ガイドラインの策定には大きな進展はなかったが、一部の疾患

で重症度分類の策定が計画されており、今後の発展が期待される。

E. 結論

平成 20 年度の「神経変性疾患に関する調査研究」班の研究と診断治療指針策定の現況を中心に記述的評価を行った。高度な研究が行われ、質の高い論文発表が見られた。治療ガイドラインの策定(改訂)については今後のさらなる検討が必要であると考えた。

研究班名	神経変性疾患に関する調査研究
研究代表者名	中野 今治
I. 研究の計画と取り組み	
疾患の定義・重要性 (2)	2
目標・計画 (2)	2
発症率・有病率の把握 (2)	1
診断基準・重症度分類の策定 (4)	2
治療ガイドラインの策定・改定 (4)	0
難病情報センターなどへの公表 (2)	2
関連学会等との整合性 (2)	1
他の研究との重複 (2)	2
得点(分子)	12
総点(分母)	20
100点満点中の点数	60.0

II. 研究内容と成果について	
研究計画の妥当性 (2)	2
進捗状況 (2)	2
研究代表者の指導性 (2)	2
研究成果 (8)	7
行政への貢献度 (2)	0
倫理性 (2)	2
得点(分子)	15
総点(分母)	18
100点満点中の点数	83.3

III. 研究発表等について	
論文・発表数 (2)	2
論文・発表の質 (2)	2
事業への適合性 (2)	2
事業名の記載 (2)	1
利益相反の有無 (2)	2
得点(分子)	9
総点(分母)	10
100点満点中の点	90.0