

特定疾患治療研究対象疾患評価に関する研究

イ ツ ノ タカシ* スギタ ミノル オオタハラユミ* ヨシダ カツミ
 伊津野 孝* 杉田 稔* 大田原由美* 吉田 勝美^{2*}
 ム トウ タカシ^{3*} タムラ マコト ミヤカワ タダオ イナバ ユタカ
 武藤 孝司^{3*} 田村 誠^{4*} 宮川 公男^{5*} 稲葉 裕^{6*}
 クロサワ ミチコ* スギモリ ヒロキ スカ マチ
 黒沢美智子^{6*} 杉森 裕樹^{2*} 須賀 万智^{2*}

目的 特定疾患対策対象疾患（難病）の疾病対策上の優先順位を評価する。

方法 全国の大学医学部の衛生・公衆衛生学関係者に対して、難病対策の優先順位をつけるための重み付けの調査を行うとともに、難病の臨床班の班長に対して難病の実状を把握するための調査を行い、両者の回答より難病対策の優先順位を付ける。

成績 難病対策の「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素の重みづけは、100点満点とした場合、それぞれの平均値は14.5, 27.1, 28.5, 29.9点となり、疾患の稀少性が最も低い重みづけとなった。各要素内でのその要素を把握する項目の重要度を評価したところ、「疾患の稀少性」の要素では、「全国患者数が少ないこと」と「全国の専門医数が少ないこと」、「原因・病態の解明度」の要素では、「発症機序が解明されていないこと」と「診断基準が確立されていないこと」、「治療法の未確立」の要素では、「有効と考えられる治療法が無いこと」と「5年生存率が低いこと」、「生活面への影響」の要素では、「日常生活で介助の必要な患者の割合が高いこと」と「就労・就学（社会参加）に支障をきたす患者の割合が高いこと」が重要となった。

結論 臨床班の班長に対する難病の実状調査にこの結果を合わせることにより、118疾患の難病対策上の優先順位を評価したところ、現在医療費補助がある治療対象疾患が上位を占めることはなく、難病対策を見直す必要があることが示唆された。

Key words : 特定疾患対策対象疾患, 治療対象疾患, 評価, 見直し

I 緒 言

特定疾患対策対象疾患（難病）は、原因不明、治療法未確立、後遺症残存のおそれが大きい、経過が慢性で経済的負担、介護などの家庭の負担、精神的負担が大きい疾患であると「難病対策要綱」¹⁾で規定されている。1972年にスモン、ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、多発性硬化症、再生不良性貧血、サルコイ

ドーンズ、難治性肝炎の8疾患より始まり、1999年には118疾患となっている。そのうちの44疾患については治療研究対象疾患として、医療費の自己負担分に対して公費負担が行われている。この4半世紀の間には医学・医療の進歩により病因の解明や治療法の開発が進み、もはや「難病」とは呼び難い疾病もある。さらに公費負担が難病対策研究そのものの負担になってくるに至り、難病対策の見直しが求められるようになってきた。そこで、本研究では、この見直しに関する評価方法を開発することを目的とした。

II 研究方法

難病対策の優先順位をより客観的に評価するために、1) 難病対策を4つの要素に整理し、各々の相対的な重要度を決定し、2) 各難病の実状を調査し、3) これらを総合して各疾患の難病対策におけ

* 東邦大学医学部衛生学教室

^{2*} 聖マリアンナ医科大学予防医学教室

^{3*} 順天堂大学医学部公衆衛生学教室

^{4*} 国際医療福祉大学医療福祉学部医療経営管理学科

^{5*} 麗澤大学国際経済学部

^{6*} 順天堂大学医学部衛生学教室

連絡先：〒143-8540 東京都大田区大森西 5-21-16
 東邦大学医学部衛生学教室 伊津野 孝

る優先順位を評価するという手順を踏んだ。まず、「難病対策要綱」から難病対策を規定する要素を疾患の、1)稀少性が高いこと、2)原因・病態の解明度が低いこと、3)有効な治療法がないこと、4)生活面への影響が大きいことの4要素とした。著者らの関係する衛生・公衆衛生学関係者28人に対し予備調査を行い、調査票の妥当性、再現性に検討を加え、最終的な調査票を作成した後、全国の大学の医学部の衛生・公衆衛生学関係者に対して質問票を送付した。対象者は各教室の有給助手以上の者とした。衛生・公衆衛生学関係者に対する質問項目を表1に示した。質問の内容は大きく分けて、難病の対策研究を進める観点から、1)難病対策を構成する要素（例えば疾患の稀少性）を具体的に把握するための項目の重要度を問う質問と、2)難病の対策研究を進めていく上での難病対策の各要素の相対的重要度を問う質問（100点満点での配点）、および3)回答者の属性を尋ねる質問項目である。項目の重要度の評価は一対比較法を用いた。各要素の相対的重要度は各要素に配分する得点を100点満点で配分する方法で配点を決定した。

一方、難病の実状を調査するために、特定疾患調査研究事業対象118疾患の分科会長（臨床班の班長）に質問票を送付した。調査項目の内容は、衛生・公衆衛生学関係者に対して行った質問項目に関し、各担当疾患の実状を尋ねるものである。難病の特性上、回答し難く、回答不能となる可能性が考えられたので、なるべく回答しやすいような回答のカテゴリーを設定した。

これらの調査の結果を回収し、衛生・公衆衛生学関係者による難病対策の要素の重み付けと臨床班長の各難病の実状の二つを考慮して難病対策上の各疾患の評価を行った。

III 研究結果

衛生・公衆衛生学関係者に対する質問票の第1回目の発送は2000年7月に行った。発送した部署は182部署で、人数は461人であった。最終的に戻ってきた部署は123部署、人数は385人であった。部署の回収率は69.1%、回答者の回収率は83.5%であった。回答に不備のない278人を今回解析対象とした。

「疾患の稀少性」に関する設問に対する結果を

表1 衛生・公衆衛生関係者への質問項目

a. 4要素を規定する項目	
要素	項目
稀少性	患者数
	専門医数
	専門病院数
原因・病態の解明度	発症機序の解明度
	診断基準の確立
	重症度基準の確立
治療法の未確立	5年生存率の低さ
	治療法がないこと
	通院の頻度が高いこと
生活面への影響	入院の割合が高いこと
	介助の必要性が高いこと
	罹病期間が長いこと
	治療費が高いこと
	社会参加に支障があること
b. 4要素の重要度配分（100点満点）	
	稀少性への配分
	原因・病態の解明度への配分
	治療法の未確立への配分
	生活面への影響への配分

表2 稀少性の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 患者数<医師数<病院数	39	14.0
2 病院数<患者数<医師数	27	9.7
3 患者数<病院数<医師数	57	20.5
4 医師数<病院数<患者数	25	9.0
5 医師数<患者数<病院数	10	3.6
6 病院数<医師数<患者数	120	43.2
計	278	100.0

表2に示した。この中で「患者数<医師数<病院数」というのは稀少性を規定する質問項目で一番重要なのは専門病院数で次に重要なのは専門医数で患者数は最も重要でないと回答したことを示している。稀少性を規定する質問項目の重要性は重要な順に「患者数、専門医数、専門病院数」と回答した者が43.2%と最も多かった。同様に「原因・病態の解明度」に関する設問に対する結果を表3に示した。原因・病態の解明度を規定する質問項目の重要性は重要な順に「発症機序、診断基準、重症度基準」と回答した者が54.3%と最も多

表3 原因・病態の解明度の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 発症機序<診断基準<重症度基準	19	6.8
2 重症度基準<発症機序<診断基準	40	14.4
3 発症機序<重症度基準<診断基準	39	14.0
4 診断基準<重症度基準<発症機序	26	9.4
5 診断基準<発症機序<重症度基準	3	1.1
6 重症度基準<診断基準<発症機序	151	54.3
計	278	100.0

表4 治療法の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 5年生存率<治療法<通院<入院	4	1.4
2 5年生存率<治療法<入院<通院	2	0.7
3 5年生存率<入院<治療法<通院	2	0.7
4 通院<入院<5年生存率<治療法	96	34.5
5 5年生存率<通院<治療法<入院	4	1.4
6 5年生存率<通院<入院<治療法	36	12.9
7 通院<5年生存率<治療法<入院	4	1.4
8 通院<5年生存率<入院<治療法	34	12.2
9 入院<5年生存率<通院<治療法	3	1.1
10 入院<通院<5年生存率<治療法	24	8.6
11 5年生存率<入院<通院<治療法	32	11.5
12 治療法<通院<入院<5年生存率	4	1.4
13 入院<治療法<通院<5年生存率	1	0.4
14 治療法<5年生存率<入院<通院	1	0.4
15 通院<治療法<入院<5年生存率	1	0.4
16 通院<入院<治療法<5年生存率	28	10.1
17 通院<治療法<5年生存率<入院	1	0.4
18 入院<通院<治療法<5年生存率	1	0.4
計	278	100.0

かった。「治療法」に関する設問に対する結果を表4に示した。治療法の未確立を規定する質問項目の重要性は重要な順に「治療法, 5年生存率, 入院, 通院」と回答した者が34.5%と最も多かった。「生活面への影響」に関する設問に対する結果を表5に示した。生活面への影響を規定する質問項目の重要性は重要な順に「介助必要, 社会参加, 罹病期間, 治療費」と回答した者が29.9%と最も多かった。これらのうち、「疾患の稀少性」と「原因・病態の解明度」について、各回答パターンの最重要な項目に10点, 次に重要な項目に5点, 3番目に重要な項目に1点を配分し, 「治療法」

表5 生活面への影響の項目の重要度比較結果

重要度比較	N	%
1 介助必要<罹病期間<治療費<社会参加	5	1.8
2 社会参加<介助必要<罹病期間<治療費	5	1.8
3 介助必要<社会参加<罹病期間<治療費	2	0.7
4 治療費<社会参加<介助必要<罹病期間	9	3.2
5 介助必要<治療費<罹病期間<社会参加	5	1.8
6 介助必要<治療費<社会参加<罹病期間	2	0.7
7 治療費<介助必要<罹病期間<社会参加	3	1.1
8 治療費<介助必要<社会参加<罹病期間	8	2.9
9 社会参加<介助必要<治療費<罹病期間	3	1.1
10 社会参加<治療費<介助必要<罹病期間	2	0.7
11 介助必要<社会参加<治療費<罹病期間	4	1.4
12 罹病期間<治療費<社会参加<介助必要	55	19.8
13 罹病期間<介助必要<治療費<社会参加	2	0.7
14 罹病期間<治療費<社会参加<介助必要	6	2.2
15 罹病期間<社会参加<介助必要<治療費	12	4.3
16 社会参加<罹病期間<介助必要<治療費	5	1.8
17 罹病期間<社会参加<治療費<介助必要	5	1.8
18 社会参加<罹病期間<治療費<介助必要	8	2.9
19 罹病期間<介助必要<社会参加<治療費	3	1.1
20 治療費<罹病期間<社会参加<介助必要	83	29.9
21 治療費<社会参加<罹病期間<介助必要	16	5.8
22 治療費<罹病期間<介助必要<社会参加	26	9.4
23 社会参加<治療費<罹病期間<介助必要	9	3.2
計	278	100.0

表6 要素別の項目得点結果

要素	項目	得点	比例配分值	順位
稀少性	患者数	1,731	0.39	1位
	専門医数	1,652	0.37	2位
	専門病院数	1,055	0.24	3位
原因・病態の解明度	発症機序	2,113	0.47	1位
	診断基準	1,543	0.35	2位
	重症度基準	792	0.18	3位
治療法の未確立	治療法	2,516	0.45	1位
	5年生存率	1,282	0.23	2位
	入院	1,101	0.20	3位
	通院	661	0.12	4位
生活面への影響	介助	2,210	0.40	1位
	社会参加	1,552	0.28	2位
	罹病期間	984	0.18	3位
	治療費	814	0.14	4位

と「生活面への影響」については、最重要な項目に10点, 次に重要な項目に6点, 3番目に重要な項目に3点, 4番目に重要な項目に1点を配分してすべての回答パターンの得点を集計したところ, 表6の結果となった。「疾患の稀少性」では,

「患者数が少ないこと」が1,731点で最も重要で、「専門医数が少ないこと」が1,652点で次に重要な項目となり、「原因・病態の解明度」では、「発症機序が解明されていないこと」が2,113点で最も重要で、「診断基準が確立されていないこと」が1,543点で次に重要な項目となった。「治療法」では、「有効な治療法がないこと」が2,516点で最も重要で、「5年生存率が低いこと」が1,282点で次に重要な項目となり、「生活面への影響」では、「介助の必要な患者が多いこと」が2,210点で最も重要で、「就労・就学（社会参加）に支障をきたす患者が多いこと」が1,552点で次に重要な項目となった。

難病の対策研究を進めていく上での難病対策の各要素の相対的重要度を問う質問の回答結果は、各要素への配点として、稀少性の平均点が（14.5±9.0）点、原因・病態の解明度の平均点が（27.1±11.7）点、治療法の平均点が（28.5±9.0）点、生活面への影響の平均点が（29.9±12.9）点であり、生活面への影響が最も高く、稀少性が最も低い配分となった。

属性の違いによる4要素の相対的重要度の比較を表7と表8に示した。実験系か非実験系かの違いでは、「稀少性」、「治療法の未確立」では配点の違いはなかったが、「原因・病態の解明度」では、実験系の配点が高く、「生活面への影響」では、非実験系の配点が高かった。難病との研究上、診療上の関わりでは、実験系、非実験系で配点が異なることはなかった。また、性・年齢による有意な差は認められなかった。

一方、臨床班の班長に対する調査は2000年10月から12月にかけて行い、回答は118疾患すべてにおいて回収できた。臨床班の班長に対する各特定

表7 属性の違いによる配点の比較

属性の違い	要素	Mean±SD	Mean±SD
実験系か非実験系		実験系(96)	非実験系(168)
	稀少性	14.5±9.6	14.5±8.8
	原因・病態の解明度	29.8±12.3 **	25.1±10.4
	治療法の未確立	28.7±8.8	28.7±9.3
	生活面への影響	27.0±10.7 **	31.6±13.8
研究上の関わり		なし(177)	あり(95)
	稀少性	14.4±9.0	14.5±9.0
	原因・病態の解明度	26.9±10.9	26.8±12.0
	治療法の未確立	29.4±8.4	27.3±9.9
	生活面への影響	29.3±11.7	31.3±14.8
診療上の関わり		なし(183)	あり(91)
	稀少性	14.7±9.3	13.9±8.3
	原因・病態の解明度	26.9±11.0	27.0±12.0
	治療法の未確立	28.7±9.4	28.4±8.1
	生活面への影響	29.6±13.0	30.6±12.6

** : $P < 0.01$

疾患の実状の結果を治療対象疾患、非対象疾患別に表9に示した。治療研究対象疾患は1999年4月現在44疾患である。その44疾患のうち、「強皮症、皮膚筋炎および多発性筋炎」と「神経線維腫症」の2疾患は調査研究対象疾患としては、「強皮症」、「多発性筋炎・皮膚筋炎」、「神経線維腫症Ⅰ型（レックリングハウゼン）」、「神経線維腫症Ⅱ型」と分かれているので、治療対象疾患の合計では46疾患となっている。

衛生・公衆衛生学関係者の質問票の解析結果を臨床班の班長の難病の実状に合わせて評価するこ

表8 年齢・性別による配点の比較

要素	30歳未満		30歳代		40歳代		50歳代		60歳代	
	男性(6)	女性(5)	男性(84)	女性(23)	男性(76)	女性(16)	男性(40)	女性(7)	男性(14)	女性(2)
Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD	Mean±SD
稀少性	16.7±6.1	9.0±2.2	12.9±7.5	16.3±8.9	14.6±10.4	14.1±7.6	15.1±10.9	15.7±8.4	16.8±7.2	20.0±0.0
原因・病態の解明度	20.8±6.6	31.0±14.3	27.2±11.3	26.1±8.4	27.3±12.9	28.1±9.8	24.5±12.4	31.4±4.8	29.3±9.0	27.5±3.5
治療法の未確立	36.7±10.8	31.0±16.7	28.7±8.3	27.8±7.0	28.1±9.7	29.1±6.1	28.1±11.3	30.0±6.5	28.9±3.5	27.5±3.5
生活面への影響	25.8±8.6	29.0±16.0	31.2±13.9	29.8±10.1	30.0±11.9	28.8±7.0	32.2±17.2	22.9±8.1	24.3±8.5	25.0±7.1

分散分析により群間の有意差なし

表9 班長集計結果

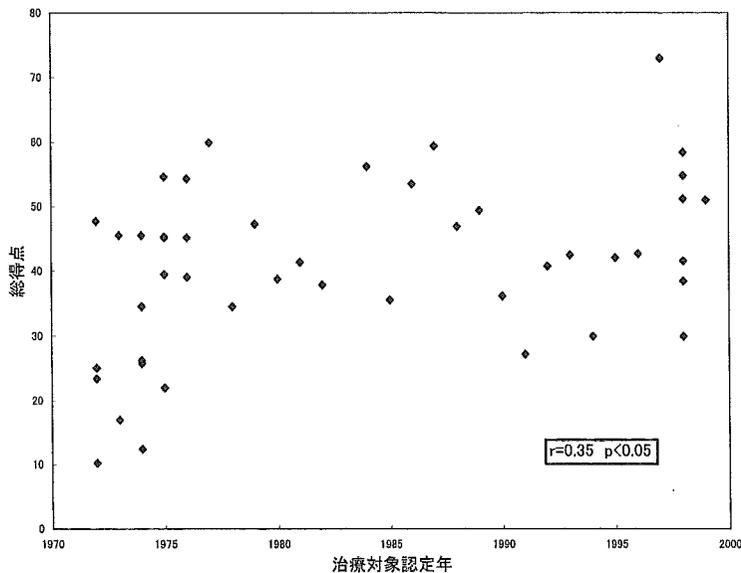
調査項目		治療対象疾患	非治療対象疾患	計
患者数	100人未満	0(0.0%)	11(15.3%)	11(9.3%)
	100-1,000人未満	11(23.9%)	21(29.2%)	32(27.1%)
	1,000人以上	35(76.1%)	39(54.2%)	74(62.7%)
	不明	0(0.0%)	1(1.4%)	1(0.9%)
専門医数	100人未満	15(32.6%)	23(31.9%)	38(32.2%)
	100-1,000人未満	26(56.5%)	35(48.6%)	61(51.7%)
	1,000人以上	4(8.7%)	12(16.7%)	16(13.6%)
	不明	1(2.2%)	2(2.8%)	3(2.5%)
専門病院数	100病院未満	17(37.0%)	23(31.9%)	40(33.9%)
	100-1,000病院未満	24(52.2%)	32(44.4%)	56(47.5%)
	1,000病院以上	4(8.7%)	15(20.8%)	19(16.1%)
	不明	1(2.2%)	2(2.8%)	3(2.5%)
発症機序	不明	21(45.7%)	22(30.6%)	43(36.4%)
	一部解明されている	22(47.8%)	49(68.1%)	71(60.2%)
	ほぼ解明されている	3(6.5%)	1(1.4%)	4(3.4%)
診断基準	なし	0(0.0%)	5(7.0%)	5(4.2%)
	検討中・策定中	4(8.7%)	19(26.4%)	23(19.5%)
	あり	42(91.3%)	48(66.7%)	90(76.3%)
重症度基準	なし	4(8.7%)	22(30.6%)	26(22.0%)
	検討中・策定中	20(43.5%)	24(33.3%)	44(37.3%)
	あり	22(47.8%)	26(36.1%)	48(40.7%)
5年生存率	30%未満	2(4.4%)	4(5.6%)	6(5.1%)
	30-70%未満	13(28.3%)	17(23.6%)	30(25.4%)
	70%以上	31(67.4%)	51(70.8%)	82(69.5%)
治療法の確立	なし	5(10.9%)	20(27.8%)	25(21.1%)
	一部改善	33(71.7%)	38(52.8%)	71(60.2%)
	あり	8(17.4%)	14(19.4%)	22(18.6%)
通院患者の割合	30%未満	6(13.0%)	16(22.2%)	22(18.6%)
	30-70%未満	18(39.1%)	32(44.4%)	50(42.4%)
	70%以上	22(47.8%)	24(33.3%)	46(39.0%)
入院患者の割合	30%未満	24(52.2%)	48(66.7%)	72(61.0%)
	30-70%未満	17(37.0%)	9(12.5%)	26(22.0%)
	70%以上	5(10.9%)	12(16.7%)	17(14.4%)
	不明	0(0.0%)	3(4.2%)	3(2.5%)
介助必要な割合	30%未満	22(47.8%)	45(62.5%)	67(56.8%)
	30-70%未満	19(41.3%)	16(22.2%)	35(29.7%)
	70%以上	5(10.9%)	4(5.6%)	9(7.6%)
	不明	0(0.0%)	7(9.7%)	7(5.9%)
罹病期間10年以上の割合	30%未満	11(23.9%)	18(25.0%)	29(24.6%)
	30-70%未満	19(41.3%)	26(36.1%)	45(38.1%)
	70%以上	16(34.8%)	25(34.7%)	41(34.7%)
	不明	0(0.0%)	3(4.2%)	3(2.5%)
治療費月1万以上の割合	30%未満	15(32.6%)	23(31.9%)	38(32.2%)
	30-70%未満	11(23.9%)	23(31.9%)	34(28.8%)
	70%以上	19(41.3%)	17(23.6%)	36(30.5%)
	不明	1(2.2%)	9(12.5%)	10(8.5%)
社会生活に支障ある割合	30%未満	9(19.6%)	30(41.7%)	39(33.1%)
	30-70%未満	26(56.5%)	23(31.9%)	49(41.5%)
	70%以上	11(23.9%)	11(15.3%)	22(18.6%)
	不明	0(0.0%)	8(11.1%)	8(6.8%)

図1 総得点の計算方法

$$\begin{aligned}
 \text{稀少性の得点} &= \left\{ \begin{array}{l} \text{患者数の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.39 + \text{専門医数の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.37 \\
 + \text{専門病院数の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.24 \end{array} \right\} \times 0.145 \\
 \text{原因の得点} &= \left\{ \begin{array}{l} \text{発症機序の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.47 + \text{診断基準の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.35 \\
 + \text{重症度基準の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.18 \end{array} \right\} \times 0.271 \\
 \text{治療法の得点} &= \left\{ \begin{array}{l} \text{治療法の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.45 + \text{5年生存率の回答} \left(\begin{array}{l} 1 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.23 \\
 + \text{入院の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.20 + \text{通院の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.12 \end{array} \right\} \times 0.285 \\
 \text{生活面の得点} &= \left\{ \begin{array}{l} \text{介助の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.40 + \text{社会生活の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.28 \\
 + \text{罹病期間の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.18 + \text{治療費の回答} \left(\begin{array}{l} 3 \text{ なら } 100 \text{ 点} \\ 2 \text{ なら } 50 \text{ 点} \end{array} \right) \times 0.14 \end{array} \right\} \times 0.299
 \end{aligned}$$

総得点 = 稀少性の得点 + 原因の得点 + 治療法の得点 + 生活面の得点

図2 総得点と治療対象認定年の関係



とにより、難病対策上の難病の118疾患の評価を行った。評価のための得点計算法を図1に示した。ここで、各疾患毎に臨床班の班長の回答が患者数の回答で、1の100人未満なら100点とし、2の100から1000人未満なら半分の50点とした。患者数の回答の係数は表6の得点を稀少性全体の得点で比例配分したものであり、稀少性の中で患者数の重み付けを0.39、同じく専門医数の重み付け

を0.37、専門病院数の重み付けを0.24とした。稀少性の得点全体にかかる0.145の係数は難病の4要素への配点のうち稀少性に対する配点の平均値を用いたものである。評価結果の上位50疾患を表10に示した。また、図1で計算した総得点と治療対象疾患の認定年との関係を図2に示した。

表10 総得点による評価結果

順位	総得点	稀少性	原因不明	治療法	生活面	治療対象 認定年	疾患名
1	70.0	7.2	13.0	25.1	24.7	1997	クロイツフェルト・ヤコブ病 (CJD)
2	68.8	10.0	8.9	25.1	24.7	—	ゲルストマン・ストロイスラー・シャインカー病 (GSS)
3	68.8	10.0	8.9	25.1	24.7	—	致死性家族性不眠症
4	66.3	10.0	6.5	25.1	24.7	—	進行性多巣性白質脳症 (PML)
5	65.6	11.6	16.1	13.1	24.7	—	血栓性血小板減少紫斑病 (TTP)
6	62.3	11.6	13.7	15.5	21.5	—	多発限局性運動性末梢神経炎
7	62.0	14.4	20.9	19.1	7.6	—	グルココルチコイド抵抗症
8	61.7	14.4	11.4	16.0	20.0	—	ビタミンD受容機構異常症
9	60.9	11.6	6.5	12.7	30.1	1987	表皮水疱症
10	58.9	11.6	15.4	13.1	18.8	1998	原発性肺高血圧症
11	58.8	4.4	15.4	17.1	21.9	1977	悪性関節リウマチ
12	58.0	11.6	8.9	15.5	21.9	1984	ウェグナー肉芽腫症
13	57.8	6.1	8.9	12.7	30.1	1976	脊髄小脳変性症
14	57.5	8.8	8.9	18.8	21.0	1975	結節性動脈膵炎
15	56.4	11.6	17.9	17.8	9.1	—	拘束型心筋症
16	55.7	6.1	15.4	12.7	21.5	1986	シャイ・ドレーガー症候群
17	55.6	7.2	13.7	16.0	18.8	—	クロウ・フカセ症候群
18	55.4	10.0	15.4	12.7	17.3	—	肺泡低換気症候群
19	54.6	11.6	16.1	17.8	9.1	—	ミトコンドリア病
20	54.6	11.6	16.1	17.8	9.1	1999	Fabry病
21	54.4	7.2	6.5	16.0	24.7	1998	亜急性硬化性全脳炎 (SSPE)
22	53.8	11.6	8.9	15.5	17.7	—	アレルギー性肉芽腫性血管炎
23	53.1	7.2	8.9	15.5	21.5	—	難治性ネフローゼ症候群
24	53.0	8.8	13.7	16.0	14.6	—	急速進行性糸球体腎炎 (RPGN)
25	51.8	8.8	16.1	17.8	9.1	—	家族性突然死症候群
26	51.0	8.8	8.9	15.5	17.7	—	抗リン脂質抗体症候群
27	51.0	11.6	15.4	6.7	17.3	1998	慢性肺血栓塞栓症
28	50.8	11.6	15.4	11.0	12.8	—	肥満低換気症候群
29	50.6	4.4	20.2	11.0	15.0	1989	広範脊柱管狭窄症
30	50.4	8.8	6.5	11.0	24.1	1972	ベーチェット病
31	48.9	4.4	22.6	12.8	9.1	—	遅発性内リンパ腫
32	48.2	8.8	15.4	12.7	11.3	1975	潰瘍性大腸炎
33	48.2	8.8	15.4	12.7	11.3	1976	クローン病
34	48.0	14.4	16.1	9.8	7.6	—	偽性低アルドステロン症
35	47.9	0.0	27.4	11.4	9.1	—	肝内胆管障害
36	46.8	8.8	6.5	14.5	17.0	—	結節性硬化症 (プリングル病)
37	46.7	11.6	13.0	8.1	14.0	1988	膿疱性乾癬
38	46.5	10.0	8.9	9.8	17.7	—	甲状腺ホルモン不応症
39	45.7	4.4	13.0	11.0	17.3	1973	多発性硬化症
40	45.7	4.4	15.4	8.1	17.7	1974	強皮症
41	45.4	4.4	13.7	14.5	12.8	1996	網膜色素変性症
42	45.4	7.2	27.4	8.1	2.7	—	硬化性萎縮性苔癬
43	45.3	4.4	15.4	12.7	12.8	1975	ビュルガー病 (バージャー病)
44	44.9	8.1	6.5	16.0	14.3	1979	アミロイドーシス
45	44.5	7.2	11.2	11.0	15.0	—	黄色靱帯骨化症
46	43.7	4.4	15.4	9.8	14.0	1993	混合性結合組織病
47	42.7	2.8	13.0	17.8	9.1	—	骨髄線維症
48	42.5	4.4	22.6	12.8	2.7	—	シェーグレン症候群
49	42.4	8.8	6.5	14.3	12.8	1998	神経線維腫症
50	41.9	7.2	6.5	17.8	10.4	1981	ハンチントン舞蹈病

Ⅳ 考 察

難病対策は1972年から特定疾患調査研究事業としてスタートし、1999年より厚生科学研究費補助金特定疾患対策研究事業に移行し、1999年には118疾患となっている²⁾。これらの対象疾患のうち、「診断基準が一応確立し、かつ難治度・重症度が高く、患者数が比較的少ないため、公費負担の方法をとらないと原因の究明、治療法の開発等に困難をきたすおそれのある疾患」を特定疾患治療研究事業の対象疾患として、医療費の自己負担分に対し、国と都道府県から補助がなされている²⁾。しかしながら、最近の医学の発達により、原因の究明や診断・治療法が進んで、もはや「難病」とは呼び難い疾患も出現するようになり、難病対策の全体的な見直しが求められるようになってきた。公費負担についても、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告書では、「現在では、研究の一環としての公費負担という本来の目的よりは、むしろ医療費の自己負担の軽減という経済的な側面が重視されるようになってきており、一定の症例数を確保するために医療費の公費負担制度が導入されたという経緯に配慮すべきである。また、対象疾患の選定方法についても、基準が明確とは言えず、単に年度毎に1疾患ずつ追加していく方法も見直すべきである。」としている³⁾。1998年より重症患者を除いて定額による患者負担が導入されることとされたが、新たな疾患認定の方法などの抜本的な改革は行われていない。「難病対策要綱」が策定された当時に1.7万人だった患者数が現在では40万人を越えており、公費負担の対象外の難病や、がん、脳卒中等の難治性の疾患との不公平感の増大も問題となってきている⁴⁾。

そこで、本研究では、この難病対策の見直しに関する評価方法を開発し、今後の難病対策に寄与することを目的とした。評価の方法としては、難病対策を客観的に評価するために次のように3段階の手順を踏むことにした。1) まず難病という概念を「難病対策要綱」より「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素とし、これらの要素に対しての難病対策上の重要度の評価を衛生・公衆衛生学関係者に一対比較法で評価してもらうように依頼

した。2) 次に各難病についての実状の評価を特定疾患調査研究事業対象118疾患の各分科会長（臨床班の班長）に依頼した。3) 最後に衛生・公衆衛生学関係者による難病対策の要素の評価と臨床班の班長による各難病の評価を考慮して、難病対策上の優先順位を決定した。ここで、難病対策の4要素の評価に衛生・公衆衛生学関係者を選んだのは、1)臨床でなく、直接難病患者を治療しない集団であること、2)幅広い医学的視野を持つ集団であること、3)疫学調査に普段から関与する機会が多く、質問票調査に協力してもらえる集団であること、などの理由からである。評価法に一対比較法を採用したのは、論理的矛盾を排し、一人一人では2つの項目のうちどちらがより重要かまでしか分からないが、集団では得点を計算して相対的な順位を求められるためであり、スポーツにおけるリーグ戦で順位を決めることにあたるものである。田村ら⁵⁾は死因リスクの確率認知の構造を調査する際の一対比較法により日本人一般のがん、脳血管疾患など6つ発生可能性を求めている。談ら⁶⁾や Okamura ら⁷⁾は一対比較法で価値観の多様性を定量的に把握することを試みており、一対比較法は今回のような多様性のある価値判断の評価に適していると思われる。佐藤ら⁸⁾は難病の優先順位を決定する方法として、決定木方式⁹⁾を採用している。この方法では、判定の早い段階で下位に枝分かれしてしまうと総合順位が極端に下がってしまう弊害が考えられる。佐藤らはこの欠点を補うために患者、行政、研究者の複数の視点からの評価することを行っている。本研究では一対比較法で質問項目の重要性の順位を求めて、難病対策の総合的な評価を行なうことを試みた。

一方、難病の実状の調査については、各疾患の実状を最もよく把握していると思われる臨床班の班長を選んだ。回収率の高さからもこのような調査に適した集団であると考えられる。

回答者の属性の違いによる評価は「病因・病態の解明度」の配点が実験系の回答者で高く、「生活面への影響」は非実験系で高い結果となった。このことは回答者の専門分野によって何を重視して研究するかの影響と思われる。研究上の関わり、診療上の関わりでは実験系と非実験系で差はなく、年齢、性別による配点の違いの傾向は認められたが、今回の研究では総合的に衛生・公衆衛

生学関係者の評価とすることとした。

臨床班の班長の各担当の難病の実状の調査の回収率は100%であり、臨床班の班長も難病対策の評価についての重要度を十分認識していることが考えられる。各項目の回答については、なるべく回答し易いような質問のカテゴリーを設定していたため、回答不能の項目がいくつかあったものの、ほとんどの項目で有効な回答を得られた。治療対象疾患は診断基準が確立している疾患から選ばれているため、診断基準が「あり」と回答のあった疾患が非治療対象疾患よりも多かったが、「検討中・策定中」と回答のあった疾患も4疾患あった。他の項目では、治療対象疾患と非対象疾患で有意に回答の分布が異なる項目はなかった。

衛生・公衆衛生学関係者の質問票の解析結果を臨床班の班長の難病の実状に合わせて評価することにより、難病対策上の難病の118疾患の優先順位の評価を行った。総得点の求め方は「疾患の稀少性」、「原因・病態の解明度」、「治療法の未確立」、「生活面への影響」の4要素ごとに得点を求め、その総和で求めた。各要素の中での質問項目の係数は衛生・公衆衛生学関係者の評価による得点を比例配分して求めた。一方、臨床班の班長の各質問項目間の重要度には外的な基準がなかったため、各項目への回答が難病対策上最も重要な回答には100点、次に重要な回答には50点を配分することとした。

総合得点によって並び替えた118疾患の順位を求めた結果では、現在治療対象疾患となっている疾患が上位を占めることはなかった。また、治療対象疾患の認定年と順位との関係は逆相関の関係が認められた。このことは時代とともに、難病対策の優先順位を見直す必要性を示しているものと考えられる。非治療対象疾患で上位に評価された疾患はゲルストマン・ストロイスラー・シャインカー病、致死性家族性不眠症、進行性多巣性白質脳症、血栓性血小板減少紫斑病、ビタミンD受容機構異常症等であった。いずれの疾患も重症例が多く、予後不良の疾患であり、早急な対策強化が望まれる。

難病は文字通り難治性の疾患であるが、難病だけが難治性の疾患ではなく、がんを始め未だに難治である疾患は多く存在する。その中で難病の一部の疾患にのみ治療費の補助が行われている理由

は単に難治であるばかりでなく、稀少疾患であるために症例数を増やし研究を進めることが本来の目的である。医療の公平の面¹⁰⁾からも医学の進歩とともに難病対策の優先度は見直されるべきと思われる。医療政策を評価する方法としては、費用便益分析¹¹⁾、費用効用分析¹²⁾などがよく用いられる。しかしながら、難病対策の優先度を決定する方法としては適切とは考えられない。症例数が少ないために、市場規模が小さく、製薬会社などからの研究費、研究者の参入が見込めない等の理由があるために特定疾患治療対象疾患に医療費の補助をしているので、難病対策を単に経済的効率で評価するには限界があると考えられる。

政策評価には、望ましい政策を選択する事前評価と政策によってもたらされた成果を評価する事後評価がある¹⁴⁾。個々の難病の研究成果の評価は特定疾患に関する評価研究班¹⁵⁾で行われているが、多彩な疾患群の研究成果を評価するのはかなりの困難を伴うものと思われる。我々の調査では、難病対策とはどうすべきかという面から事前評価を行うとともに、臨床班の班長からの各疾患の実状を調査することにより簡易的に事後評価を取り入れた。すなわち、衛生・公衆衛生学関係者からの難病対策の要素の評価で治療法が解明されていないことが難病対策上重要であると評価されたのは、事前評価にあたり、臨床班の班長が自分の担当疾患の治療法はかなり解明されていると回答した場合に、その疾患の難病対策上の優先順位が低くなるのは、事後評価の考えにあたるものである。もっとも、事後評価については今回の調査だけでは不十分であり、今後とも検討する必要があると考えられる。

今回の研究では衛生・公衆衛生学関係者から総合的な見地より各要素の重み付けを行い、臨床班の班長に担当の疾患の実状を考慮して総合得点による優先順位付けを行った¹³⁾。これは難病対策の要素の評価者を衛生・公衆衛生学関係者とした場合にこのような結果となったことを示しているであり、難病対策の優先順位をこのようにすべきであるとしたものではない。評価者を別の集団にすれば優先順位も当然異なった結果となるものと考えられる。また、使用した調査票は独自に作成したものであるため、予備調査で検討したとは言え、妥当性、再現性にも限界があるものと考えら

れ、今後、検討の必要がある。臨床班の班長による担当疾患の実状の回答についても、全国疫学調査を行った疾患もあれば、行っていない疾患もある¹⁶⁻¹⁸⁾などの違いがあり、より客観的なデータの収集も必要であると考えられる。

本研究は、厚生省特定疾患対策研究事業「特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究（班長：杉田 稔）」により行った。調査にご協力頂いた、厚生労働省健康局疾病対策課の方々、全国の衛生・公衆衛生学関係の先生方、特定疾患臨床班（分科会）の班長の先生方に感謝いたします。

（受付 2001. 9.17）
（採用 2002. 4.19）

文 献

- 1) 厚生省保健医療局疾病対策課. 難病対策提要. 平成10年版. 厚健出版, 東京, 1998.
- 2) 厚生統計協会. 国民衛生の動向. 厚生 の 指 標 1999; 48: 160-164.
- 3) 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会最終報告書 (平成7年)
- 4) 疾病対策研究会監修. 難病対策ガイドブック. 現代社会保険, 東京, 2000.
- 5) 田村 誠, 川田智恵子. 死因リスクの確率認知の構造に関する調査研究. 日本公衛誌 1997; 44: 558-567.
- 6) 談小 健, 高野 泰, 岸野洋久. 階層モデルを用いた嗜好度格差の解析. 計量生物学 2001; 21: 15-28.
- 7) Okamura H, Kiyota M, Hiramatsu K. Quantitative Analysis of Paired Comparison Data Using Bradley-Terry Model with a Normal Distribution. Japanese Journal of Biometrics 2001; 21 (2): 1-14.
- 8) 佐藤俊哉, 稲葉 裕, 黒沢美智子, 他. 特定疾患治療研究事業対象疾患の選定方法に関する検討. 厚生 の 指 標 2000; 47: 11-17.
- 9) Pauker SG, Kassirer JP. Decision analysis. N Engl J Med 1987; 316: 250-258.
- 10) 池上直己, JC キャンベル. 日本の医療, 中央公論社, 東京, 1996.
- 11) Mishan EJ. Cost-benefit analysis Fourth edition. New York: Routledge, 1988.
- 12) Weinstein MC, Stason WB. Foundations of cost-effectiveness analysis for health and medical practices. New Engl J Med 1977; 296: 716-721.
- 13) 杉田 稔. 特定疾患対策対象疾患の評価に関する研究班平成12年度総括研究報告書.
- 14) 山谷清志. 政策評価の理論とその展開, 晃洋書房, 京都, 1997.
- 15) 清野 裕. 特定疾患に関する評価研究班平成12年度研究報告書.
- 16) 大野良之. 特定疾患治療研究事業未対象疾患の疫学像を把握するための調査研究班平成11年度研究報告書.
- 17) Ohno Y, Kawamura T, Tamakoshi A, et al. Epidemiology of intractable diseases in Japan. J Epidemiol. 1996; 6: s99-s109.
- 18) Ohno Y, Kawamura T, Tamakoshi A, et al. Epidemiology of diseases of unknown etiology, Specified as "Intractable Diseases". J Epidemiol. 1996; 6: s87-s93.

EVALUTION OF INTRACTABLE DISEASES

Takashi IZUNO*, Minoru SUGITA*, Yumi OTAHARA*, Katsumi YOSHIDA^{2*},
Takashi MUTO^{3*}, Makoto TAMURA^{4*}, Tadao MIYAKAWA^{5*}, Yutaka INABA^{6*},
Michiko KUROSAWA^{6*}, Hiroki SUGIMORI^{2*}, and Machi SUKA^{2*}

Key words : Intractable diseases, Specified intractable diseases, Evaluation, Reevaluation

Objective The aim of this study was to determine priorities for specific intractable disease from the viewpoint of countermeasures.

Methods A significance evaluation to provide a priority framework for intractable disease was performed with a questionnaire distributed to the staff of preventive medicine and public health departments of medical schools in Japan. To determine the actual conditions of these intractable diseases question were directed at the chairmen of individual clinical study groups. The priority to be assigned countermeasures for such diseases was obtained from the two questionnaires.

Results When the 4 factors “rare nature of diseases,” “level of clarity of causes and pathology,” “unestablished curative treatment,” and “influence on daily life” were evaluated using 100 point as a full score, the mean scores were 14.5, 27.1, 28.5 and 29.9 points, respectively. In attaching importance to the various items, regarding the “rare nature of disease” the elements of “few patients nationwide” and “few specialist doctors nationwide” proved important; for the “level of clarity of causes and pathology,” this was the case for the elements of “unclear triggering mechanism” and “diagnostic criteria not established.” With the “unestablished curative treatment,” the “no efficacious treatment available” and “low 5-year survival rate elements were important; and with the factor of “influence on daily life,” the two most significant were “high proportion of patients needing assistance in daily life” and “high percentage of patients impeded from attending school or obtaining a job (playing a role in society)”.

Conclusion When the priority among the 118 intractable diseases was evaluated by combining the overall results of the questionnaire survey with preventive medicine and public health staffs, and actual condition data from survey investigation of the intractable diseases among chairmen of clinical study groups, it was suggested that some intractable diseases whose medical expenses are covered by the medical aid program have a low ranking.

* Department of Environmental and Occupational Health, Toho University School of Medicine

^{2*} Department of Preventive Medicine, St Marianna University School of Medicine

^{3*} Department of Epidemiology and Environmental Health, Juntendo University School of Medicine

^{4*} Department of Health Service Management, International University of Health and Welfare

^{5*} Department of International Economics, Reitaku University

^{6*} Department of Public Health, Juntendo University School of Medicine