

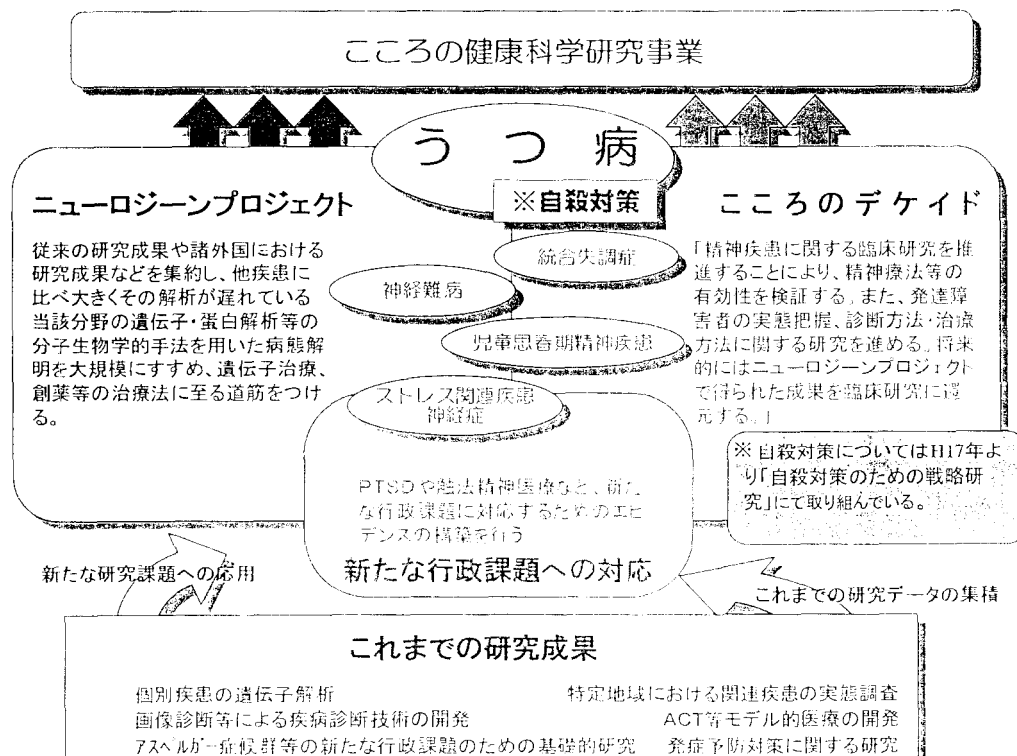
編のうえ発足したものである。

これらの疾患の病態解明や診断治療法の開発は、一般の身体疾患に比べて、疫学調査等の心理・社会的手法、分子生物学的手法および画像診断技術等の最先端バイオ・メディカル技術等の活用が十分でない面もある。また、こころの健康科学の研究においては、これら最新の医学医療技術の活用のみならず、福祉を含む社会システムや倫理的課題までを視野に入れた学際的な取り組みも必要となるが、本研究事業の実施によりこれらの連携が進み、研究基盤が確立するとともに新たな研究分野の形成や発展も期待されることである。このため、今後とも、うつ病や自殺対策、遺伝子解析に基づく画期的治療法の開発など行政的に重要な課題を中心に、研究の一層の拡充が求められる。

これまでの研究成果は、学術的な成果として発表され、本分野の研究の進展に寄与しているのはもちろんのこと、随時、行政施策に反映され、こころの健康問題や精神疾患、神経・筋疾患対策の充実に貢献してきている。

こころの健康科学研究は広い範囲を対象とするものであるから、優先度の高い課題を適切に選定して効率的に推進することが重要である。現在でも、行政的なニーズに学術的な観点を加えて、公募課題を決定し、応募された課題の事前評価と採択、中間・事後評価等を実施しているが、これらの評価システムをより有効に運営することが求められている。

#### 4. 参考（概要図）



## 13) 難治性疾患克服研究事業

(分野名) 疾病・障害対策研究分野

(研究経費名) 難治性疾患克服研究経費

事業名	難治性疾患克服研究事業
主管部局(課・室)	健康局疾病対策課
事業の運営体制	主管部局単独運営

関連する「第3期科学技術基本計画における理念と政策目標(大目標、中目標)」

理念	健康と安全を守る
大目標	生涯はつらつ生活
中目標	国民を悩ます病の克服

### 1. 事業の概要

(1) 分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)で関係する「重要な研究開発課題」

重要な研究開発課題	・ 精神・神経疾患、感覚器障害、認知症、難病等の原因解明と治療の研究開発
研究開発目標	○2010年までに、多様な難病の病態に関して情報収集し、適切な治療法が選択出来るような知的基盤を確立する。
成果目標	◆2015年頃までに、多様な難病の病態に関する知的基盤を元に治療方法を適切に評価し、情報提供する。 ◆2020年頃までに、神経・筋疾患、感覚器疾患について、細胞治療、遺伝子治療、創薬等による治療法開発の例を示す。

(2) 事業内容(継続)

神経疾患、自己免疫疾患、先天性代謝疾患等の難治性疾患に対しては、昭和47年に策定された難病対策要綱に基づいて研究が進められ、一定の成果を上げてきたところであるが、依然、完治に至らない疾患等が存在する。

平成15年度から、「難治性疾患克服研究」を創設し、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない自己免疫疾患や神経疾患等の不可逆的変性をきたす難治性疾患に対して、重点的・効率的に研究を行うことにより、病状の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行い、患者の生活の質の向上を図っているところある。

その一方で、その発症メカニズムや有効性の高い治療法について、十分に解明が進んでいるとはいえない難病が依然として存在しており、一層の研究の充実が求められている。

このため、平成17年度より「難治性疾患克服研究」において、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない自己免疫疾患や神経疾患等の不可逆的変性を来す難

治性疾患に対して、他の分野の基盤開発研究を踏まえた臨床応用の展開を図り、進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行うとともに、地域における難病患者のQOLの向上を図ることを目的として研究を推進する。

また、特定疾患治療研究事業もあわせた事業評価を行い、新たな難治性疾患への対応についても検討を進めていく。

こうした研究事業の基盤整備を進めるため、若手研究者育成活用事業、外国人研究者の招へい、外国への日本人研究者等の派遣及び研究成果等の啓発などの推進事業を実施する。

具体的には、

- ・免疫、ゲノム、再生等他の基盤開発研究の成果を活用した新しい治療技術の開発
- ・失われた機能を補完する機器の開発や心理的支援の開発
- ・緊急性、治療法の開発レベル等を考慮した重点研究
- ・新しく開発された治療技術の臨床応用(安全性、有効性に関する評価)

等の研究を進め専門家、行政官による事前評価に基づき研究補助金を交付し、得られた成果を適切に医療や地域保健の現場に反映させる。

### (3)関連事業(関連事業所管課)との役割分担

関連事業なし。

### (4)分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)における「戦略重点科学技術」及び「重要な研究開発課題」との関係

本事業は、重要な研究開発課題である精神・神経疾患、感覚器障害、認知症、難病等の原因解明と治療法の研究開発を進めていくものである。また、戦略重点科学技術のうち「臨床研究・臨床への橋渡し研究」に該当し、研究成果を創薬や新規医療技術として実用化し、国民への成果還元を目的とするものである。

### (5)予算額(単位:百万円)

H15	H16	H17	H18	H19
2,322	2,126	2,239	2,397	(未確定値)

### (6)研究事業の成果

特定疾患の診断・治療等臨床に係る科学的根拠を集積・分析し、医療に役立てることを目的に積極的に研究を推進している。また、重点研究等により見いだされた治療方法等を臨床調査研究において実用化につなげる等治療法の開発といった点において画期的な成果を得ている。

平成17年度の主な研究成果

- ① 難治性疾患に関する臨床調査研究(17年度:1,336百万円)

(プリオン病及び遅発性ウイルス感染に関する調査研究班)

2005年5月に日本でのvCJD症例について英国での国際サーベイランス会議で発表し、これを機にWHOの基準の見直しが進んでいる。SSPEについても実態の把握が進み、疫学的危険因子や遺伝的危険因子、SSPE特有のゲノムが明らかとなり、リバビリンの治験も進んでいる。

(神経変性疾患に関する調査研究班)

パーキンソン病の有用な鑑別診断法として、MIBG心筋シンチグラフィの異常所見が発見された。

(特発性心筋症に関する調査研究班)

心筋症を細分化し、それぞれの診断基準を作成し、国際的な診断・治療のスタンダードを提供した。

② 難治性疾患に関する横断研究(17年度:251百万円)

(特定疾患の地域支援体制の構築に関する研究班)

・ 精神的支援体制

身体的支援体制整備と並列して精神的・心理的サポート体制の必要性を研究した。療養環境・生活支援・相談事業など特定モデル地域での成果を全国に普遍化する戦略を確立した。

・ 医療体制

都道府県単位に難病医療ネットワークを構築してより円滑に専門医療を供給できる体制整備、拠点病院と協力病院の役割分担、個々の患者の長期支援に専門医師がより積極的に参画する意義、効果について研究、これらの支援体制整備の具体的な効果を実証した。

③ 難治性疾患の新規治療法開発に関する重点研究(17年度:586百万円)

(筋萎縮性側索硬化症の病因・病態に関わる新規治療法の開発に関する研究班)

変異SOD1に特異的に結合するユビキチンライゲースを同定した。また数種の変異SOD1遺伝子導入トランスジェニックマウスを作製し、臨床病像との相関を明らかにした。さらには治療法の開発に応用するために髄腔内への薬剤投与が可能なトランスジェニックラットを作製し、新規治療法の開発を行った。

## 2. 評価結果

(1)必要性

・ 「難治性疾患克服研究」と「特定疾患治療研究事業」の連携

いわゆる難病の中でも、患者数が少なく、原因が不明で、有効な治療法がなく、長期にわたる生活への支障を来す疾患については、疾患の病態の解明、治療法の開発を進めるために国を挙げて研究を推進する必要があるため、「難治性疾患克服研究」の対象疾患(現在121疾患)としている。その中でも、治療費が高額で生活への支障も特に大きい疾患については、医療費の自己負担分を補助して診療を勧め、臨床状態を記載した「臨床調査個人票」を研究に利用する「特定疾患治療研究授業」の対象(現在45疾患)とすることで、行政が難病患者の臨床データを収集し、研究者の英知を集めて個別の疾患の克服を目指した研究を推進する必要がある。本研究事

業は、「特定疾患治療研究事業」と密接に連携して研究成果を挙げつつ、社会的にはいわゆる難病患者にとってかけがえのないものである。

- ・ 新しい治療法の開発

予後の著しい改善がみられない難病の対策を進めるためには、世界標準の診断法・治療法を確立し、病状の進行阻止を図ることが急務である。

- ・ 患者の生活の質の向上

患者の生活の質(QOL)の向上についても積極的に研究を推進していく必要がある。

- ・ 新たな難病についての研究

現在、研究対象となっていない疾病についても、緊急性等を考慮して治療法の開発等を推進していくべきである。

## (2) 効率性(費用対効果にも言及すること)

本研究とその成果に関する経済的な試算は困難であるが、難病患者にとって、治療成績の向上やそれに伴って社会参加が可能となることはかけがえのないものであり、約60万人の患者にとって全体として大きな効果を有するものと考えられる。

難治性疾患克服研究事業においては、研究班を構成する研究者から幅広い情報、患者の臨床データが収集され、先端技術を駆使した適正な研究を効率的に進めることが可能である。また、積極的に他の基盤開発研究の成果を適切に活用し、効率的に事業が進められている。

評価方法についても外部の評価委員で構成される評価委員会(事前、中間事後)が、多角的な視点から評価を行い、その結果で研究費の配分が行われており、効率的に事業を進めている。

## (3) 有効性

本研究事業は、ゲノム情報を活用した生体機能の解明により、以下のような目標を達成し難病等の克服に向けた様々な成果を上げることが期待される。

- ・ 難病患者のQOLの指標及び治療効果測定手法を確立する。
- ・ 近年の科学技術の進歩に対応した(ゲノム関連技術、再生医療、免疫メカニズム等に関する)診断・治療技術の開発や国内で開発された新しい治療法の実証的臨床研究を行うことによって、難治性疾患の治療成績向上と治癒・寛解した患者の社会復帰の促進を図る。
- ・ 難治性疾患患者のQOLの向上を図るため、患者のQOLの指標及び治療効果測定手法を確立する。

## (4) 計画性

神経疾患、自己免疫疾患、代謝疾患等の難治性疾患に対しては、難病対策要綱(昭和47年策定)に基づいて研究が進められ、一定の成果をあげてきたところであるが、依然、完治に至らない疾患等が存在する。平成15年度から、難治性疾患克服研究と研究事業の名称を変更し、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない不可逆的変性を来す難治性

疾患に対して、重点的・効率的に研究を行うことにより、病状の進行の阻止、機能回復・再生を目指す画期的な診断・治療法の開発を行い、患者の生活の質の向上を図っているところである。

具体的には、以下の目標が達成されるよう、本研究事業を推進している。

1. 多くの難病について標準的な診断・治療指針が示され、国内の多くの医療機関において、稀少性難病の早期診断・早期治療が可能となる。
2. 難病患者の地域における支援ネットワークが整備され、施設、在宅にかかわらず、必要なケアを受けることができる。
3. 有効な治療法の見出せない難病についても、失われた機能を補完する機器の開発や心理的支援の開発が進み、生活の質を大幅に向上する。
4. 新薬の治験、細胞治療、遺伝子治療等についての臨床研究が大幅に進み、新たな治療法の開発が加速される。
5. 同時に、安全で副作用の少ない、患者個人に最適な治療法の選択が可能となる。
6. 発症メカニズムの解明が進んだ場合は、難病予防への道筋が示される可能性がある。

#### (5)分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)の研究開発目標、成果目標の達成状況

分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)の研究開発目標である「多様な難病の病態に関して情報収集し、適切な治療法が選択出来るような、知的基盤を確立する。」に向けて、多様な難病それぞれに関する調査研究を推進すると共に、疾患横断的に有効な治療法等を評価するための研究、難病患者の検体保存に関する研究を併せて推進し、多様な難病への研究と診療のためのデータベース構築を着実に進めている。

#### (6)その他

特記なし。

### 3. 総合評価

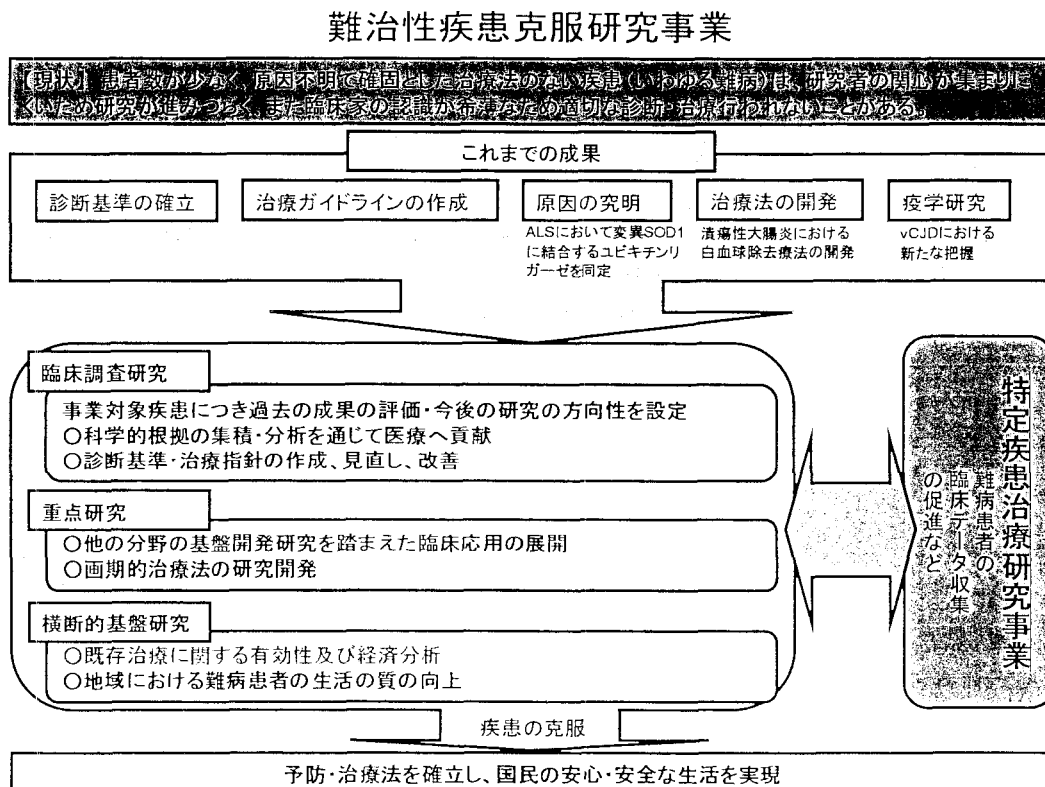
新規治療法の開発に関しては、難治性疾患に対し、各疾患群別に国際標準の診断基準と治療方法の導入を図るための調査を行うとともに、対象を重点化し明確な目標を持った上で、ゲノム関連技術、再生医療等の革新的技術を基にした診断・治療法の開発と実証的臨床研究による実用化を目指す必要がある。

また、難病患者のQOLの向上に関しては、難病患者の生活の質の向上を図るため、難病相談支援センター等の難病患者を取り巻く社会基盤の効果的な活用方法に関する研究、患者の心理的カウンセリングに関する研究や難病患者が地域や家庭で生活する上で、有効的に患者とその家族の生活を支援するための用具や機器の開発等を実施する必要がある。

さらに、行政施策との関連からみれば、本事業は、疫学的手法や先進的な自然科学的手法により、特定疾患の診断基準作成を進めるなど、難病施策と密接な関係があり、行政的にも効果的

な成果が期待できる。また、いわゆる「難病」については、特定疾患調査研究対象疾患以外にも様々な疾患が存在する。このような疾患の臨床像・疫学像等の実態を把握し、「難病」における特定疾患調査研究の位置づけを明らかにする必要がある、必要な研究に十分な費用が投入できる効率的な研究体制を構築していく必要がある。また、そのためには一刻も早く現在対象となっている難病の克服を進める必要がある。

#### 4. 参考(概要図)



## <IV. 健康安全確保総合研究分野>

健康安全確保総合研究分野は、「医療技術評価総合」、「労働安全衛生総合」、「食品医薬品等リスク分析」、「地域健康危機管理」の各事業から構成されている(表5参照)。

表5.「健康安全確保総合研究分野」の概要

研究事業	研究領域
14)医療安全・医療技術評価総合	
15)労働安全衛生総合	
16)食品医薬品等リスク分析	17-1)食品の安心・安全確保推進
	17-2)医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合
	17-3)化学物質リスク
17)健康危機管理対策総合	

### 14)医療安全・医療技術評価総合研究事業

(分野名)健康安全確保総合研究分野

(研究経費名)医療安全・医療技術評価総合研究経費

事業名	医療安全・医療技術評価総合研究事業
主管部局(課・室)	医政局 総務課
事業の運営体制	医政局 総務課(医療の質の評価、医療安全等)、指導課(救急・災害医療等)、医事課(医師の資質向上、医学教育等)、看護課(看護の質の向上等)、歯科保健課(歯科医療の質の向上等)、研究開発振興課(医療技術の評価、医療情報、統合医療等)

関連する「第3期科学技術基本計画における理念と政策目標(大目標、中目標)

理念	健康と安全を守る
大目標	安全が誇りとなる国
中目標	暮らしの安全確保

#### 1. 事業の概要

(1) 分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)で関係する「重要な研究開発課題」

重要な研究開発課題	・ 医療の安全の推進、医療の質の向上と信頼の確保に関する研究開発(医療におけるヒューマンエラー等の防止等、医療の安全と質の向上のための研究開発を行う)
-----------	---



研究開発目標	<p>○2010年までに、医療安全の管理体制の充実に資する、医療の質の評価体系についての案を示す。</p> <p>○2010年までに、ヒューマンエラー等が発生しやすい部門や手技に対して、ヒューマンセンタードデザインの視点で開発された IT 機器の導入による影響を把握する。</p>
成果目標	<p>◆2015年頃までに、医療の安全及び信頼の確保当を通じた、より質の高い効率的な医療サービスを提供する。</p> <p>◆2015年頃までに、ヒューマンエラー等が発生しやすい部門や手技に対して、ヒューマンセンタードデザインの視点で開発された IT 機器の導入により、未然の事故防止を図る。</p>

(2)事業内容(継続)

本研究事業は、安全で良質な医療を効率的に提供するための医療システムの構築、医療安全体制の確保を進めるため、医療の信頼を確保するための基盤研究、医療提供体制の基礎となる技術の開発等を重点的に実施し、その研究成果を医療政策に反映させることとしている。

(3)関連事業(関連事業所管課)との役割分担

昨年度まで本研究事業の対象としてきたテロ対策に資する医療体制の在り方に関する研究は健康危機管理・テロリズム対策システム研究事業に移管した。

(4)分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)における「戦略重点科学技術」及び「重要な研究開発課題」との関係

医療安全の推進、医療の質の向上と信頼確保に関する研究については、ライフサイエンス分野推進戦略における重要な研究開発課題に位置づけられている。

(5)予算額(単位:百万円)

H15	H16	H17	H18	H19
1,668	1,718	1,432	1,317	(未確定値)

(6)研究事業の成果

良質な医療を合理的・効率的に提供する観点から、医療技術や医療システムを評価し、医療資源の適切な配分を行うなど、時代の要請に速やかに対応できるよう、既存医療システム等の評価研究を実施するとともに、医療の質と患者サービスの向上のために必要不可欠な医療安全体制の確保に関する研究、根拠に基づく医療(Evidence-based Medicine:EBM)に関する研究を実施し、有効な成果を得ている。

【根拠に基づく医療の効果的な普及と臨床への適用に関する研究】

根拠に基づく医療の推進のために、重点23疾患に加え、新たに7癌種を対象とした診療ガイドラインの作成支援を行った。

#### 【医療安全の推進に関する研究】

入院カルテの調査により、医療事故の全国発生頻度が明らかとなり、諸外国の発生頻度と比較することができた。集中治療室の安全管理指針案を作成した。診療行為に関連した死亡の原因究明のための具体的な体制、方法等を取りまとめた。

#### 【医療の質と信頼の確保に関する研究】

外来がん化学療法における、抗がん剤の血管外漏出に焦点を当てた看護ガイドラインを、科学的根拠に基づく手法を用いて開発した。

精神障害者の地域生活を促進するために必要な精神訪問看護の効果とサービス内容を明らかにした。

#### 【医療安全の確保に資する電子カルテシステム等の開発と利活用に関する研究】

平成17年5月に公表された標準的電子カルテ推進委員会最終報告書の内容を受け、標準的電子カルテの開発に関する研究事業の成果を、本年度より事業化する標準的電子カルテ作成の基盤として活用している。

#### 【効果的な危機管理体制の確保に関する研究】

広域災害時の災害派遣医療チーム(DMAT)の運用のあり方を確立した。へき地の診療に従事する医師が診療で求められる診療等について、アンケート調査結果に基づいて整理した。

#### 【医療の質の確保等】

死体検案業務の資質の向上や新臨床研修制度の評価等により、医療の質に関する調査等を行った。

## 2. 評価結果

### (1)必要性

- ・ 安全・安心な医療を提供するためには、医療提供システムへの先端技術の最適な活用が求められており、このような研究の進展は社会的なインパクトが極めて大きく、国がリーダーシップをとり研究を進める意義は大きい。
- ・ 医療安全に関しては、国が中心となり、国民の暮らしの安全確保に向けた取組みを行うことが必要と考えられる。
- ・ 近年の科学技術の急速な進展に伴い高度医療が発展し、技術の進歩によって新たに開発された医療技術が実際の医療現場に導入される機会が急速に増えている。一方でこのような医療技術を安全に利用するためには、新たに開発された医療技術の安全性と有効性を評価するための具体的な基準が必要となるが、その基準の検討等に当たっては、国が一定の役割を果たす必要がある。
- ・ また、最近、漢方、鍼灸、アロマセラピー、いわゆる健康食品、伝統的な治療法等の現代西洋医学に含まれない医療領域(統合医療)への関心が高まっているが、一方でこのような医療の科

学的評価等は未だ十分とはいえず、早急に国内外における統合医療の効果、有効性、安全性、経済的評価等を実施していく必要がある。

・ なお、本研究事業と密接な関係を持つ医療提供体制の改革については、政府・与党医療対策協議会において「医療制度改革大綱」(平成17年12月)として方針が示されるとともに、第164回通常国会において関連法律(医療法・医師法等)の改正が行われた。上記の一連の議論においては、本研究事業において研究課題である「医師の偏在是正等による地域医療を担う人材の確保」、「医師の労働問題」、「異状死体の届出(医師法21条)」、「終末期医療に関する問題」等も大きく取り上げられたところである。

#### (2)効率性(費用対効果にも言及すること)

・ 現在、医療事故の発生に伴う医療訴訟が、年間1000件ほどあるが、医療安全確保の研究や医療システム構築に係る研究の進展等によって、医療の質が向上し医療事故の発生が減少すれば、医療事故によって死亡する等の患者が減少し、極めて大きな効果を国民が享受することが期待される(また、米国のデータによると有効性の高い電子システムの開発・導入によって重篤な薬剤事故の50%以上が削減可能であり、大幅な医療費の削減に繋がる可能性が示唆される)。

・ また、患者の保険証認証をネットワークで行うことのできるシステムを研究・開発することにより、従来まで当該認証業務に要したコスト(約800億円/年)を削減することが可能となる。

・ 複数の医療機関を受診する際に、紙ベースによる診療情報共有のために発生する重複診療行為のコスト(約3,000億円/年、年間総医療費の1%)を、電子署名基盤を利用した医療機関関連連携システムの研究・開発することにより一定程度削減することが可能となる。

・ 災害医療においては、災害時における救急医療体制の確立によって救命される患者が増加することが期待され、国民の安全・安心が確保されているという社会的利益も大きい。

・ このような研究とその成果に対する経済的な試算は現時点では困難であるが、生命の危険にさらされ、不安を抱えた患者にとって、適切な医療資源の投入による治療成績の向上や医療に対する信頼の向上はかけがえのないものであり、国民全体にとって大きな効果をもたらすものと考えられる。

#### (3)有効性

医療事故等の予防に有効性が高く良質な医療を提供するために必要な技術、基準、マニュアル等の開発・作成(EBM、医療安全、医療情報技術、看護技術、統合医療等)を進め、最終的に質の高い医療をあらゆる医療現場において提供できる体制の構築を図る。

#### (4)計画性

##### 【19年度の課題公募に向けた考え方】

社会保障審議会医療部会で論点となっている点も念頭に、患者の視点に立ち、個人のニーズに応じた医療提供体制の確立を目指した研究課題を公募し採択する。

また、平成19年度公募課題については競争的資金になじむ課題について公募を実施する。継続課題についても競争資金になじまない研究は中止・縮小する。

【個別内容に係る課題】

(医療安全の推進)

- ・ 医療安全に関する基礎情報の収集に関する研究
- ・ 患者の視点の尊重として医療に関する情報提供の推進や安全で安心できる医療の再構築に関する研究
- ・ 医療安全方策の標準化に関する研究
- ・ 医療事故発生後の対応に関する研究
- ・ 院内感染に関する研究

(医療の質と信頼確保)

- ・ 異状死の届出に関する研究
- ・ 地域医療の質の向上に関する研究
- ・ へき地における医療供給体制の整備等に関する研究
- ・ 在宅における終末期医療の充実等に関する研究
- ・ 質が高く効率的な医療の提供体制の構築や医療を担う人材確保と質の向上
- ・ 研修医と労働性に関する研究
- ・ 医師バンクのネットワーク化に関する研究
- ・ 質の高い医薬品・医療機器、医療関連サービス等の開発

(医療安全の確保に資する医療の情報化の推進)

- ・ 医療安全の確保に資する電子カルテシステム等の開発と利活用に関する研究

(適切な情報技術を活用した医療情報ネットワークの推進)

- ・ 医療情報ネットワークの総合的なセキュリティ確保に関する研究
- ・ 遠隔医療等の適切な情報通信技術の活用による医療の質の向上、効率化の推進に関する研究

(効果的な救急医療・災害医療の確保)

- ・ 小児救急医療の指標の確立に関する研究【新規】
- ・ へき地診療に活用可能な科学技術の開発に関する研究
- ・ 減災・防災に資するに医療技術の開発と活用に関する研究【新規】

(根拠に基づく医療の手法開発と適用、医療技術の評価)

- ・ 根拠に基づく医療(Evidence-based Medicine :EBM)の臨床への適用手法に関する研究
- ・ 看護技術の開発、評価及び看護提供体制に関する研究
- ・ 歯科分野における診療ガイドライン構築に関する総合的研究

統合医療の現状調査、評価基準の開発【新規】