

埼玉県難病相談・支援センター

ニューズレター

第2号

ともに歩もう!

埼玉県難病相談・支援センター一周年記念講演会

「神経難病患者の治療とケア」



講師 北里大学東病院神経内科講師
荻野 美恵子氏

日時 平成22年7月27日(火)
午後3時から4時30分

場所 埼玉県障害者交流センター

参加者 109名

講演から抜粋(パワーポイント資料)

【難病医療にて注意が必要な障害】

- ・呼吸障害 呼吸筋障害をきたす疾患・呼吸器感染症(誤嚥性肺炎)・人工呼吸療法の導入(NPPV or TV)
- ・嚥下障害 栄養状態・経管栄養(経鼻 or 胃ろう)
- ・自律神経障害 排尿障害・便秘・イレウス
- ・精神障害・知能障害 進行性痴呆・精神症状
- ・コミュニケーション障害 トーキングエイド・コンピュータの導入

【難病医療で必要となる知識】

- ・病気の概要 稀少疾患が多く患者家族も理解が難しい。
- ・症状や進行について 予測をたてた医療が必要
- ・きたしやすい合併症・副作用について 日常診療で気をつけることはなにか
- ・治療法についての知識 特殊な治療や治療試験等
- ・社会福祉的な知識 特定疾患・介護保険認定(2号)・患者会等

参加者の声

- ・自分の筋疾患のことしか考えられなかったが、他の病気を少し知ることによって自分の気持ちが変わった気がする。
- ・講師が患者目線で接してくれていると感じられ、講演を嬉しく聞くことができました。
- ・難病の方、ご家族の気持ちを大切に、各先生と事業所との連携の大切さがよくわかりました。

アンケートより引用

ともに歩もう！ 埼玉県難病相談・支援センター第2回講演会

「炎症性腸疾患治療の基本的な考え方」

一治療はどのように選択されているのだろうかー

講 師 国立病院機構東埼玉病院副院長
正田 良介

日 時 平成22年10月19日（火）

場 所 さいたま共済会館

参加者 29名



【講演】

炎症性腸疾患は慢性の原因不明の再燃性の病気です。

そのため、インターネット上では少々いかがわしいもののいかにも効きそうな治療法が出ていたりします。

しかし、どのような治療を受けるかは、エビデンス（科学的根拠）に基づいて判断されるべきです。その基本的な考え方を今回はまとめました。

1. なぜ新薬は認可に時間がかかるのでしょうか

物質 A が炎症性腸疾患に効きそうという動物実験の結果が出たとすると、その後はこの物質 A がその動物に対して常に有効なのか、異なった実験系でも同じように有効なのか、人に使用して良いかの研究がまず行われます（前臨床試験）。

物質 A が前臨床試験で有効であるとされ、薬剤として製造販売しようとする企業があると薬物としての認可の過程が始まります。また、医師が主導する研究として行われることや、欧米での臨床試験（患者さんを用いた研究）を流用して日本人での有効性を確認する場合も実際には数多く存在します。

臨床試験（治験）の指導をし、実質的に認可をするのが、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）という第三者機関です。薬害の救済などの仕事もありますが、今回は治験の信頼性保証業務・承認審査業務を通して、物質 A が認可される過程を示します。開始前に、対面助言という形で科学的・倫理的に適切な治験の計画を立てます。

そして、第一相として、健常ボランティアの方で、人がのんでも大丈夫か（安全性の確認）、どれくらいのもんでも大丈夫か（用量設定）、どの様に体内に吸収されて体外へ排泄されていくか（薬物動態）の確認をします。

第二相として、少人数の患者さんで、病気の人がのんでも大丈夫であることやどれくらいのもんだら効きそうかを試みます。

第三相は、本格的に大人数の患者さんで、本当に物質 A が薬剤として有効か、そして安全そうかを確認する段階で、治験の主体をなすものです。この結果をもって、物質 A は薬品として認可されるかの審査を受けますが、科学的にどれほど正しく有効性が証明されているか（後述）が重要になります。そして、薬物 A として認可された後にも、頻度は低いものの重篤な副作用が出ないか、本当に長期に使っても有効性は続くのか等に関して第四相として調査が続けられます（製造販売後調査）。

日本では従来は審査に時間がかかる事が問題となっていました。審査期間をあらかじめ設定する事や、日本人でもその結果が使えるかの検証をした上で欧米での研究を流用する事で、以前に比較すれば迅速に認可されるよ

うになってきています。

この認可で問題となる点の1つは、有効性が示されても製造販売により儲からない薬剤の取り扱いです。

例えば、メトロニダゾールは大腸型クローン病に有効であることは外国で示されていますが、すでに他の疾患用に販売されている価格がとて安く、なおクローン病が稀少疾患で大量の販売が見込めないことから、認可のための申請は行われていません。PMDAは製薬会社に必要な薬剤の申請を促しているようですが、一件数億から数十億円が必要な治験に経済の原理が働く以上、有効でありながら申請されない薬品も存在すると思われます。

2. 科学的に正しいとはどのように示されるのでしょうか。

新しい薬物(物質)Aの有効性をみるためには、最初に薬物Aの効果を何と比較するかが決まっている必要があります。すなわち、使ったら良くなっただけでは、自然経過で良くなったのかも、安静にして食事を規則正しくしたから良くなったのか分からないからです。最も適切な比較の相手(比較対象=コントロール)は薬効作用を持たない偽薬(プラセボ=ネガティブ・コントロール)とされています。薬物Aは偽薬よりも悪い影響を与える可能性も当初は否定できないからです。ただ、すでに有効性が確認された薬物Bが存在する場合には、薬物AがB(ポジティブ・コントロール)よりも有効か、少なくとも同等の効果があることを試すことになります。

有効性を比較検討していく際に、思いこみ(バイアス)を極力排除した研究がより科学的と考えられています。このバイアスは大きく3つに分類されます。1.選択バイアス:Aは良い薬なので効きそうな若い患者さんに使ってしまう、2.情報バイアス:Aは効くはずのものなので良くなっているはずである、そして、3.交絡バイアス:Aを投与する患者さんは食後内服をするために食事をきちんと摂取させよう、などが例にあげられます。

1.の場合では、投与したAが有効なのか、若いから効いたのかが分からなくなります。この選択バイアスは、くじや乱数表で無作為にA投与群とコントロール群に振り分けること(無作為化)で排除することが可能です。

2.では、A投与者の顔色が医師には良いように見えてしまうかもしれず、患者さんもAは効きますよと言われれば元気になったような気になるかもしれません。この情報バイアスは、医療側も患者さん側もAかコントロール薬を投与されているか分からなくすること(二重盲検化)で排除することができます。

3.は、「風が吹けば桶屋が儲かる」的な状態です。「風が吹く→砂埃が舞う→目の悪い人が増える→三味線を弾く人が増える(昔は三味線の胴には猫の皮を使った)→猫が減る→ねずみが増える→桶をかじる→桶屋が儲かる」のであって、風が吹くことが原因ではなく、増えたねずみが桶をかじることが、桶屋が儲かる原因です。上の例では、Aが有効なのか、食事を規則正しくしたことが有効なのか分からないことになります。前向きに計画を立てて、1.と2.をきちんと排除しておけば、薬を投与するといった研究(介入研究)では3.も避けられることが多いものです。見方を変えると、1.の若いことも結果として交絡因子となっています。

以上をまとめると、前もって(前向き)比較する対象を設定して(比較対照研究)、選択バイアスは無作為化(ランダム化)で、情報バイアスは2重盲検化(ダブル・ブラインド化)で排除してでてきた研究の結果は科学的であることとなります。これが、前向き無作為化2重盲検対象比較試験(prospective randomized double-blind controlled trial:RCTと略される)が科学的に正しい結果を提供するとされる理由です。欧米で医療におけるエビデンスの水準が設定されています(表1)。1aは、複数のRCTを科学的に統合して結論を出したメタ分析であり、1bはきちんとデザインされたRCTです。注目すべきは、委員会や専門家の意見は最下位のIVとなっていることです。

前述のように偽薬との比較が薬物Aの効果を確認するときに最も科学的なのですが、すでに有効性が確認された薬物Bがある時には、偽薬を用いることは倫理的ではありません。潰瘍性大腸炎に対する白血球除去療法の臨床試験で、リスクのある体外循環を行ってシャムカラム(外見は同じだが白血球を除去しないカラム)をコントロールとして二重盲検化することは倫理的でないことが問題になりました。

表 1. Evidence の水準（米国健康政策研究局 AHCPR）

水準	根拠の種類
Ia.	無作為化対照比較試験のメタ分析から得られた根拠
Ib.	少なくとも1つの、無作為化対照比較試験から得られた根拠
IIa.	少なくとも1つの、無作為化はしていないがよい対照比較研究から得られた根拠
IIb.	少なくとも1つの、よくデザインされたその他の準実験的研究からの根拠
III.	比較研究、相関研究、症例対照研究といったよくデザインされた非実験的記述研究からの根拠
IV.	専門委員会、代表的権威者の意見や臨床経験からの根拠

3. 医師はどのようにエビデンスを使っているのか。

エビデンスに基づいて行う医療をEBM（Evidence-based medicine）と呼んでいます。EBMは通常5つのステップからなっており、①患者さんの医療上の問題点を取り出して回答可能な質問に転換し、②その問題点に対して解決するためのエビデンスを効率よく検索し、③そのエビデンスが科学的に正しそうかを批判的に吟味し、④その吟味したエビデンスを当該の患者さんに適用し、⑤適用した結果を評価してフィードバックする、という流れになっています。ステップ③での批判的吟味は上述の科学的に正しいかどうかの検証をするため、前述したエビデンスのレベルが参考になります。最大の難題はステップ④で、そのエビデンスのレベルが高くて、患者さんの社会背景や権利・嗜好（ナラティブ：患者の語るところ）を考慮した上で適用する必要があります。別の言葉にすると、臨床経験に基づきエビデンスを用いるのであって、「鬼（臨床経験を持った医師）に金棒（エビデンス）」の関係のようにエビデンスは診療のための優秀な道具とも言えます。昔の大先生は自分の経験のみを中心（鬼が大きすぎ）に、新人の医師では知識はあってもそれをうまく扱えない（金棒が大きすぎ）可能性があり、両者のバランスがとれている方が良いと例えられるかもしれません。手っ取り早いエビデンスの入手方法は医学書からですが、古いものではレベルVの様な権威者の語るどころが多く、なおかつ改版に5年以上間隔があるものが普通でした。最近では、UpToDateのように、頻りに改定され、エビデンス・レベルの高いものだけを集めた電子的な医学書もあります。ガイドラインもかつては権威者の意見が書かれていました（金棒のない鬼だけがいる状態）が、その反動で一時エビデンスのみを列挙したガイドライン（金棒だけで鬼がいない状態）が作られたことがあり、実際の診療現場が混乱しました。

最近のクローン病や潰瘍性大腸炎のガイドラインは、「エビデンスとコンセンサスを統合した」ガイドラインになっています。これは、単に金棒（エビデンス）のみで作られるのではなく、鬼（臨床経験=経験ある医師のコンセンサス）も加味して作られています。集められたエビデンスに対して、複数（10人程度）の専門医と一般医が実際の診療でどれくらい使用しているかを無記名で採点することを数回繰り返して、エビデンス・レベルと診療上のコンセンサスの両者から推奨度を決定しています。この方法は、デルファイ法と呼ばれ、権威者個人の意見に左右されない公正な方法とされています。このようなガイドラインは、ステップ④での治療方針決定に役立ち、日本中で比較的均質な医療を供給する助けになると考えられます。炎症性腸疾患は原因が不明で多くの因子が関わっていることから、治療に関してもここで書かれているように単純でなく、絡み合ったエビデンスをうまく使ったうえで、患者さん個々の特性や社会背景も含めて治療をすることが必要となります。

【参加者の声】

- ・かなり専門的なお話で理解するのが大変だった。先生のお話を参考にして治療法について見極め医師とも相談し、よりよい治療を進めたい。
- ・科学的に正しいこととはどういうことなのかと、普段考えることのないことを専門的にきくことができよかった。

アンケートより引用

活動報告

埼玉県難病相談・支援センターでは、難病相談支援員が難病患者の皆様やご家族の相談に応じ、情報提供や支援を行っています。

相談状況(4月~12月)は下記のとおりとなっております。疾病別の相談件数は、6頁をご覧ください。

相談者の状況

	東埼玉	障難協
本人	155	218
家族	135	76
その他	55	19
合計	345	313

相談内容(東埼玉病院分)

医療に関すること	179
療養生活に関すること	118
家族、介護に関すること	22
制度に関すること	117
就労に関すること	16
その他	51
合計	503

【団体への支援等】

- ◎平成22年6月19日(土)日本網膜色素変性症協会(JRPS)埼玉支部総会で国立病院機構東埼玉病院正田副院長が埼玉県難病相談・支援センターについて講演

【埼玉県難病相談支援センター研修会】

- ◎講演「ピアカウンセリングとは何か」
 講師：埼玉県立大学 保健医療福祉学部教授 朝日 雅也
 日時：平成22年8月31日(火) 午後2時から4時
 場所：独立行政法人国立病院機構東埼玉病院 大会議室 参加者59名

埼玉県障害難病団体協議会

【ピアカウンセリング事業】

- ◎パーキンソン病医療講演・相談会 平成22年10月30日(土) 草加保健所
 「知っておきたいパーキンソン病のこころえ」
 講師 順天堂大学医学部附属順天堂越谷病院神経内科 森 秀生教授
 参加者46名
- ◎特発性大腿骨頭壊死症医療講演・相談会 平成22年11月27日(土) 障害者交流センター
 「特発性大腿骨頭壊死症の診断と治療」 講師 埼玉医科大学整形外科 金 潤澤准教授
 参加者36名
- ◎クローン病・潰瘍性大腸炎医療講演・相談会 平成22年12月4日(土) 埼玉会館
 「炎症性腸疾患と栄養」 講師 独立行政法人国立病院機構東埼玉病院副院長 正田 良介
 参加者52名

【自主活動支援】

- ◎後縦靭帯骨化症患者・家族交流会 平成22年7月31日(土) 埼玉会館 参加者37名
- ◎膠原病患者・家族交流会 平成22年11月14日(土) 埼玉県障害者交流センター
 参加者28名

難病相談件数(4月~12月)

		疾 病 名	東埼玉	障難協			疾 病 名	東埼玉	障難協
血液系	1	再生不良性貧血	2	4	視覚	70	網膜色素変性症	2	6
	3	不応性貧血	1	0		聴覚	73	突発性難聴	2
	7	特発性血小板減少性紫斑病	4	0	75		メニエール病	1	4
	8	原発性免疫不全症候群	0	1	循環器系	77	肥大型心筋症	2	0
免疫系疾患	9	ベーチェット病	4	3		78	拡張型心筋症	2	1
	10	全身性エリテマトーデス	13	22		79	拘束型心筋症	2	0
	11	多発性筋炎及び皮膚筋炎	7	9		80	ミトコンドリア病	3	0
	12	シェーグレン症候群	6	3		81	ファブリー病	2	0
	13	成人スティル病	2	2	呼吸器	83	特発性間質性肺炎	6	9
	14	高安病(大動脈炎症候群)	0	2		84	サルコイドーシス	4	2
	16	結節性動脈周囲炎	4	1		88	ランゲルハンス細胞組織球病	2	0
内分泌系	17	ウェゲナー肉芽腫症	0	1	消化器系	97	潰瘍性大腸炎	17	25
	19	悪性関節リウマチ	1	0		98	クローン病	8	32
	26	原発性アルドステロン症	1	0		100	原発性胆汁性肝硬変	5	0
	33	TSH受容体異常症	1	0		101	難治性肝炎のうち劇症肝炎	1	0
	34	甲状腺ホルモン不応症	3	0		103	肝外門脈閉塞症	2	0
神経系疾患	35	下垂体機能低下症	2	1	108	重症急性膵炎	1	0	
	38	脊髄小脳変性症	12	8	皮膚・結合組織	110	強皮症	1	10
	39	シャイ・ドレーガー症候群	9	4		113	混合性結合組織病	1	5
	40	線条体黒質変性症	0	1		114	神経線維腫症 I 型	6	0
	41	モヤモヤ病	5	0		118	膿疱性乾癬	1	1
	43	多発性硬化症	8	3		119	天疱瘡	2	0
	44	重症筋無力症	2	0		121	色素性乾皮症	1	0
	45	ギラン・バレー症候群	4	2		122	先天性魚鱗癬様紅皮症	1	0
	47	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	1	1	骨・関節	123	後縦靭帯骨化症	11	54
	50	筋萎縮性側索硬化症	43	13		124	黄色靭帯骨化症	0	1
	51	脊髄性進行性筋萎縮症	2	0		126	広範脊柱管狭窄症	1	6
	神経系疾患	54	パーキンソン病	44	11	127	特発性大腿骨頭壊死症	5	14
		55	進行性核上性麻痺	10	1		合 計	293	263
		56	大脳皮質基底核変性症	3	0				
57		ハンチントン病	3	0					
60		クロイツフェルト・ヤコブ病	1	0					
61		ゲルストマン・ストロイスラー・シャインカー病	1	0					
65		原発性側索硬化症	2	0					



埼玉県難病医療連絡協議会

埼玉県重症難病患者入院施設確保事業

埼玉県重症難病患者入院施設確保事業として、埼玉県より委託を受けて平成21年度から独立国立病院機構東埼玉病院に事務局を置いて実施している。

【目的】

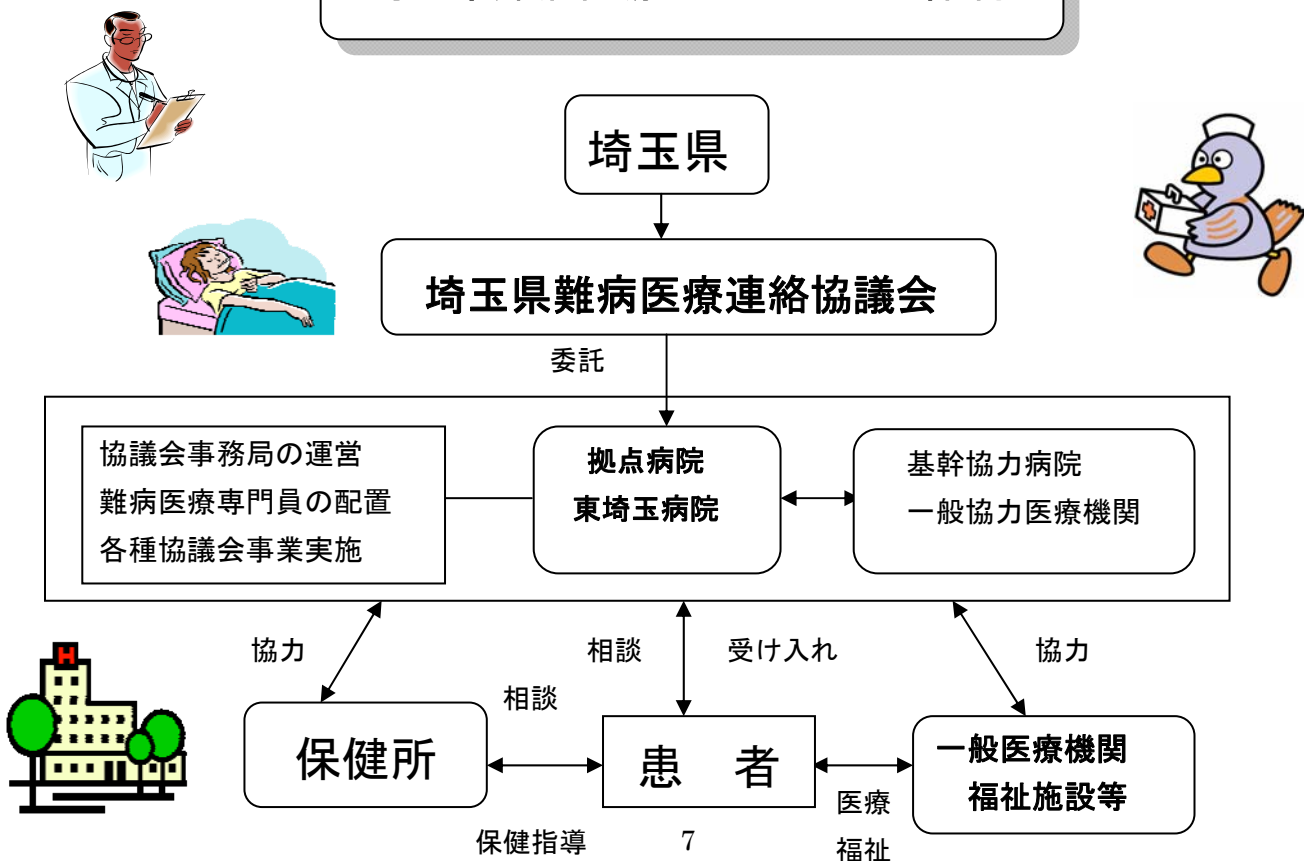
重症難病患者の在宅療養支援を支援するため、在宅療養を希望する重症難病患者・家族、及び医療機関からの相談への対応、往診、訪問看護に携わる医師、看護師等への研修の実施、在宅の患者に医療が必要となった際の円滑な入院のための連絡調整を行う難病医療連絡協議会を、広域的、専門的医療機関に設置する。また、この協議会を設置して重症難病患者と医療機関を結び付けることにより、難病対策を推進する体制を構築する。

【事業】

難病医療連絡協議会事務局として、以下の事業を実施

- ①FAX ホットラインを設置し、在宅療養を希望する重症難病患者・家族、及び医療機関からの相談に対応するとともに、在宅医療を提供できる医療機関、訪問看護ステーション等との連絡調整を行う。
- ②重症難病患者の在宅療養に関わる医療機関、訪問看護ステーション等に対し、在宅療養機器(人工呼吸器など)を使用した、在宅療養に必要な技能を習得するための研修を実施する。
- ③在宅医療に関わる医療機関、訪問看護ステーション等が使用するための重症難病患者特有の摂食や突発性的変化など、様々な事例への対応を可能とする医療支援マニュアルの作成を行う。
- ④在宅患者の突発的な入院受け入れの調整を行う。
- ⑤①～④を円滑に実施するために、協議会を随時開催する。

埼玉県難病医療ネットワーク体制



【平成22年度事業内容】

◎ホットライン FAX14件 電話相談 262件

◎第6回埼玉県難病医療連絡協議会中央研修会

日時：平成22年11月2日(火) 会場：埼玉県県民健康センター 参加者 174名

内容：講演会「神経難病患者の心を支える」

- 筋萎縮側索硬化症患者の心理 東京国際大学言語コミュニケーション学部講師 森 朋子
- 神経難病診療における説明と同意 独立行政法人国立病院機構宮城病院診療部長 今井 尚志
- 難病患者のピアカウンセリングとその意義 埼玉県立大学保健医療福祉学部教授 朝日 雅也
- 幻覚妄想状態とうつ病への対処

埼玉医科大学総合医療センターメンタルクリニック教授 堀川 直史

◎埼玉県難病医療連絡協議会地区研修会(地域難病従事者研修会)

日時：平成22年6月4日(金) 会場：川越市総合保健センター 参加者 104名

内容：1 平成22年度川越市難病対策事業について

2 特定疾患医療給付制度について

3 関係機関からの情報提供

4 研修「多系統萎縮症と脊髄小脳変性症の病態生理とサービス導入について～多系統萎縮症の事例を通して学ぶ」

講師 独立行政法人国立病院機構東埼玉病院長

川井 充

訪問看護ステーション スマイル

看護師 吉利七五三

作業療法士 布川 貴子

◎第40回在宅ケア研修会(埼玉県難病医療連絡協議会 地区研修会)

日時：平成22年12月17日(金) 会場：国立病院機構東埼玉病院 参加者 92名

内容：講演「神経難病の呼吸管理」

○呼吸障害の病態 国立病院機構東埼玉病院神経内科医長 鈴木 幹也

○呼吸障害のケアのポイント 国立病院機構東埼玉病院副看護師長 小河原 智美

○呼吸リハビリテーション 国立病院機構東埼玉病院理学療法士 田島 夕起子

○事例での検討 当院と関係機関との在宅ケアの連携の課題

◎埼玉県難病医療連絡協議会協力病院合同検討会議

日時：平成22年4月27日(火) 会場：さいたま共済会館

発行 埼玉県難病相談・支援センター

◎国立病院機構東埼玉病院

〒349-0196 埼玉県蓮田市黒浜 4147

TEL048-768-1161 Fax048-768-2305

HP <http://esaitama.org/nanbyo/>

◎社団法人埼玉県障害難病団体協議会

埼玉県障害者交流センター

〒330-8522 さいたま市浦和区大原 3-10-1

TEL048-834-6674 Fax048-834-6674

HP <http://www2.tbb.t-com.ne.jp/snk/NewPage/contents/shien.htm>