

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109135h0003
研究開発課題名 : 診療ガイドライン策定を目指した骨系統疾患の診療ネットワークの構築
研究代表機関名 : 国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名 : 大菌恵一

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

軟骨無形成症(ACH)、低ホスファターゼ症(HPP)、骨形成不全症(OI)に対して、患者実態調査を行い、症状及び現状の問題点を把握。アレンドロネートの臨床試験を実施、有効性を示す。

難治性稀少骨疾患に対して新規治療薬を組み入れた診療ガイドラインを策定しようとするものであり、多角的な研究によって研究成果は出つつある。また個々の診療ガイドラインの策定も進んでいるようである。

診療ガイドラインの作成に向けCQを設定し、OIの臨床研究、低フォスファターゼ症の医師主導治験の結果のエビデンスの記載や、FGFR3, OIの診断基準のバリデーションなど成果があった。論文発表にも努められている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

2ページ目に示されている図で、初年度の「診断基準、重症度分類の作成」は達成しているように思われるが、「遺伝子診断を含む診断の中央判定」との絵姿には至っていないのでは？

診療ガイドライン策定と新規治療薬開発とを無理やり組み合わせた感は否めない。新規治療薬が開発されても、診療ガイドラインに組み入れるほどのエビデンスはすぐには十分には得られない可能性大である。

レジストリ構築はなされたが登録済みが2例と目標100例を大幅に下回っており、進捗が遅れがみられる。診療の質の領域としては領域の異なると思われる研究もなされており、これらについては進捗が遅れているものがあり、分離して進めるのがよいのではないか。

以上