

平成 28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報

事業名： (日本語) 日本医療研究開発機構研究費(難治性疾患実用化研究事業)
(英語) Japan Agency for Medical Research and Development
(Practical Research Project for Rare/Intractable Diseases)

研究開発課題名： (日本語) 多系統萎縮症の自然歴とその修飾因子に関する研究
(英語) Research for the natural history and its modifying factors in multiple system atrophy

研究開発担当者 (日本語) 佐々木秀直、特任教授、北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野神経内科学教室

所属 役職 氏名： (英語) Hidenao Sasaki, professor, department of neurology, faculty of medicine and graduate school of medicine, Hokkaido University.

実施期間： 平成 28 年 4 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日

研究開発分担者 (日本語) 矢部一郎、准教授、北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野神経内科学教室

所属 役職 氏名： (英語) Ichiro Yabe, Associate Professor, Department of Neurology, Faculty of Medicine and Graduate School of Medicine, Hokkaido University

研究開発分担者 (日本語) 下濱 俊、教授、札幌医科大学医学部神経内科学教室

所属 役職 氏名： (英語) Shun Shimohama, Professor, Department of Neurology, School of Medicine, Sapporo Medical University

研究開発分担者 (日本語) 佐藤典宏、教授・センター長、北海道大学病院臨床研究開発センター

所属 役職 氏名： (英語) Norihiro Sato, Professor/Director, Hokkaido University Hospital, Clinical Research and Medical Innovation Center

研究開発分担者 (日本語) 伊藤陽一、准教授、北海道大学大学院医学研究院社会医学分野医学統計学教室

所属 役職 氏名 : (英 語) Yoichi, M. Ito, Associate Professor, Department of Biostatistics,
Hokkaido University Graduate School of Medicine

研究開発分担者 (日本語) 森 満、教授、札幌医科大学医学部公衆衛生学

所属 役職 氏名 : (英 語) Mitsuru Mori, Professor, Department of Public Health, Sapporo Medical
University School of Medicine

研究開発分担者 (日本語) 菊地誠志、病院長、国立病院機構北海道医療センター

所属 役職 氏名 : (英 語) Seiji Kikuchi, Director, National Hospital Organization Hokkaido
Medical Center

研究開発分担者 (日本語) 片山隆行、講師、旭川医科大学大学病院第一内科

所属 役職 氏名 : (英 語) Takayuki Katayama, Lecturer, First Department of Internal
Medicine, Asahikawa Medical University

分担研究 (日本語) 難病登録システムの臨床研究への利用に向けた検証と評価

分担課題名 : (英 語) Utilization of intractable diseases registry for clinical
study: evaluation and certification.

補助事業分担者 (日本語) 国立保健医療科学院 健康危機管理研究部 部長 金谷泰宏

所属 役職 氏名 : (英 語) National Institute of Public Health
Dpt. Health Crisis Management, Director, Yasuhiro Kanatani

II. 成果の概要（総括研究報告）

- ・ 研究開発代表者による報告の場合

和文

佐々木秀直教授(北海道大学神経内科)を研究代表者として北海道大学神経内科、札幌医科大学神経内科、旭川医科大学第一内科脳神経内科、道内の基幹病院神経内科が協力して MSA の前向きコホート構築(HoRC-MSA:Hokkaido Rare disease Consortium for MSA)を目指して本研究を開始した。目的は MSA の前向き自然歴調査、療養環境、自然歴修飾因子の調査研究である。北海道大学病院自主臨床研究審査委員会の承認を得た後、北海道内医療施設を通じて MSA 患者を募集し、レジストリ構築を開始した。対象患者は郵送質問票等で調査し結果を解析した。平成 26 年 11 月から平成 29 年 3 月末までに 188 名より研究参加の意向表明あり、うち 142 名より文書で同意を得た。140 名について MSA コンセンサス診断基準への適合などを確認した後、71 名に対して Unified MSA Rating Scale (UMSARS) 等で評価した。診断基準によると、この 140 名の 76% は probable MSA、24% は possible MSA と診断された。病型の内訳は MSA-C 57%、MSA-P 29%、以降型 9%、判定困難 5%であった。重症度については UMSARS part IV で区分すると、IV-1 が 5%、IV-2 が 17%、IV-3 が 16%、IV-4 が 36%、IV-5 が 26%であった。今後の課題として患者登録を増やすと共に、発病初期の患者登録と終末期患者の追跡調査が今後の課題である。

英文

The project of constructing registry system for multiple system atrophy (MSA) is a collaborative study with the 3 Neurology Departments of Medial Schools in Hokkaido (Hokkaido University, Sapporo Medical University, and Asahikawa Medical University) and board-certified neurologists in the major medical hospitals throughout this region. The project was organized under the initiative of H Sasaki (prof., Department of Neurology, Hokkaido University). After the approval of ethics committee of Hokkaido University Hospital, we started the registration of patients with MSA. In the period from Nov 2014 to Mar 2016, approval for entry was obtained from 188 patients; written informed consent was obtained from 142 patients; 140 patients satisfied the Consensus Criteria of MSA. UMSARS was scored from 71 patients. In the former 140 patients, 76% were probable MSA and 24% were possible MSA according to the criteria; of them, 57% are classified as MSA-C, 29% as MSA-P, 9% as mixed form, and remaining 5% as type undetermined; clinical severity according to UMSARS part IV showed that 5% of them were classified as IV-1, 17% as IV-2, 16% as IV-3, 36% as IV-4, and remaining 26% as IV-5. Through these progress, this research project is now required how to increase the entry of patients especially in early clinical stage, and how to obtain informations from the patients at advanced sage of MSA.

- ・ 研究開発分担者による報告の場合

III. 成果の外部への発表

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 件、国際誌 件）
該当なし

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

1. (シンポジウム)なおる神経内科：MSA の治療の実現のために、何が必要か？「MSA の臨床試験（現状と課題）」、口頭、松島理明、佐々木秀直、第 57 回日本神経学会学術大会、2016/5/19、国内。
2. (一般演題) 北海道における多系統萎縮症レジストリ研究：HoRC-MSA、ポスター、松島理明、佐久嶋研、矢部一郎、伊藤陽一、片山隆行、佐光一也、森 満、下濱 俊、佐藤典宏、菊地誠志、佐々木秀直、北海道保健福祉部健康安全局地域保健課感染症・特定疾患グループ、HoRC-MSA 研究グループ、第 57 回日本神経学会学術大会、2016/5/19、国内。
3. (一般演題) The score changes of clinical symptom assessment scales for multiple system atrophy in 2-3 years, Matsushima M, Yabe I, Takahashi I, Sakushima K, Nakano F, Hirotsu M, Kano T, Horiuchi K, Houzen H, Sasaki H, ポスター, 20th International Congress of Parkinson's Disease and Movement Disorders, Germany, 2016/6/20, 国外。

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み
該当なし

(4) 特許出願
該当なし

平成 28 年度医療研究開発推進事業費補助金 (難治性疾患実用化研究事業) 成果報告書

I. 基本情報

- 事業名 : (日本語) 日本医療研究開発機構研究費(難治性疾患実用化研究事業)
(英語) Japan Agency for Medical Research and Development
(Practical Research Project for Rare/Intractable Diseases)
- 研究開発課題名 : (日本語) 多系統萎縮症の自然歴とその修飾因子に関する研究
(英語) Research for the natural history and its modifying factors in multiple system atrophy
- 研究開発担当者 (日本語) 佐々木秀直、特任教授、北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野
神経内科学教室
- 所属 役職 氏名 : (英語) Hidenao Sasaki, professor, department of neurology, faculty of medicine and graduate school of medicine, Hokkaido University.
- 実施期間 : 平成 28 年 4 月 1 日 ~ 平成 29 年 3 月 31 日
- 分担研究 (日本語) 難病登録システムの臨床研究への利用に向けた検証と評価
分担課題名 : (英語) Utilization of intractable diseases registry for clinical study: evaluation and certification.
- 補助事業分担者 (日本語) 国立保健医療科学院 健康危機管理研究部 部長 金谷泰宏
所属 役職 氏名 : (英語) National Institute of Public Health
Dpt. Health Crisis Management, Director, Yasuhiro Kanatani

II. 成果の概要（総括研究報告）

- ・ 補助事業代表者による報告の場合
- ・ 補助事業分担者による報告の場合
補助事業代表者：北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野神経内科学教室・特任教授・佐々木秀直 総括研究報告を参照。

III. 成果の外部への発表

（1）学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌1件、国際誌1件）

1. Kanatani Y, Tomita N, Sato Y, Eto A, Omoe H, Mizushima H. National Registry of Designated intractable diseases in Japan: Present status and future prospects. *Neurologia medico-chirurgica*, 2017; 15(57); p1-7.
2. 水島洋、金谷泰宏. 指定難病における患者登録制度-患者登録の重要性と現状の課題 Patient registry for designated intractable diseases. *医学のあゆみ* 2016; 258(12); p1123-1127.

（2）学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

1. 特定疾患治療研究事業により登録された運動失調症の症例解析について. ポスター. 金谷泰宏、佐藤洋子、水島洋、水澤英洋. 東京. 2016年4月. 国内. 第133回日本内科学会講演会;東京. 同抄録集 p.184

（3）「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み なし

（4）特許出願 なし