

ムコ多糖症の生活の質の効用による評価

久繁哲徳¹，片山貴文¹，祐川和子²，三笠洋明¹

要約

ムコ多糖症スクリーニングの有効性を評価するための指標として、生活の質（効用）による評価を行った。方法としては、評点尺度法（RS）、時間得失法（TTO）、基準的賭け法（SG）を用いた。その結果、専門医・医学研究者による効用値（SG）（死亡0、健康1）は、MPS：IH（Hurler症候群）0.33、MPS：IS（Scheie症候群）0.69、MPS：II（Hunter症候群、重症型）0.35、MPS：II（Hunter症候群、軽症型）0.69、MPS：III（Sanfilippo症候群）0.35、MPS：IV（Morquio症候群）0.62であった。その他の方法による評価結果との間に有意の相関が認められたが、効用値は比較的低い傾向を示していた。また、専門医・医学研究者と医学生による評価結果との間には、有意な相関が認められた。

以上のように、今回の調査ではムコ多糖症の生活の質が効用により評価された。これらの調査結果は、生活の質を組込んだ経済的評価の可能性を示唆するものと考えられる。さらに一般住民あるいは患者・家族に対して調査を実施し、その有効性、信頼性、集団特性などを確立することが今後の課題と考えられる。

見出し語：ムコ多糖症，健康結果，生活の質，効用（utility）

目的

医療の臨床的有効性および経済的効率を評価する上で、最終的な健康結果を評価することが不可欠である¹⁾。とくに、健康結果の指標としては、生命の量である効果（effectiveness）だけでなく、生命の質（quality of life, QOL）を併せて用いることが重要であることが指摘されている²⁾。スクリーニングにおいても同様であり、臨床的有効性の指標としてQOLが評価されるようになり、それを利用した経済的評価である費用-効用分析（cost-utility a-

nalysis）が注目されている³⁾。

前回、事例検討により、先天代謝異常症の一つであるムコ多糖症のスクリーニングについて、QOL評価の適用可能性が示唆された。そこで、今回は、多数例を用いてQOLの評価を行った。

対象と方法

生活の質を測定する対象疾患としては、ムコ多糖症の中から比較的頻度の高い、MPSI型（Hurler症候群およびScheie症候群）、II型（Hunter症候群重症および軽症）、III型（Sanfilippo症候群）、IV型（Morquio症候群）を用いた⁴⁻⁶⁾。

なお、生活の質を測定する上では、臨床の場

¹ 徳島大学医学部衛生学講座

² 岐阜大学医学部小児科学教室

では患者が対象となるが、医療政策では一般住民が適切な対象となる。今回の調査では、後者を目的としているが、その際、健康状態の理解が重要な前提となるため、対象者として当該疾患の専門家および医学研究者6名を対象として面接調査を実施した。さらに、医学生98名を対象として、集合法による調査を行った。この調査においては、生活の質の測定方法と内容について、30分の説明を与えた後に測定を行った。

健康状態については、その特徴を簡条的に要約したシナリオを作成し、標準化した測定が可能となるように試みた。測定方法としては、現在、国際的に標準化が行われている、評点尺度法 (rating scale, RS), 時間得失法 (time-trade off, TTO), 基準的賭け法 (standard gamble, SG) の3方法^{3,7)}を用いた。測定に際しては、視覚的な補助手段として、健康温度計、得失評価板、回転確率板を用いた^{3,7)}。

結果

ムコ多糖症の生活の質 (効用) の評価結果を表1-2に示した。専門医および医学研究者による効用値 (SG) の平均値 (標準偏差) は、重症に該当するI型HおよびII型重症, III型で、それぞれ0.33 (0.23), 0.35 (0.21), 0.35 (0.21)であった。また、比較的軽症に該当するI型SおよびII型軽症, IV型の効用値は、それぞれ0.69 (0.35), 0.69 (0.35), 0.62 (0.28)であった (表1)。その他の測定方法による効用値は、SGの測定値よりも低く、TTO, RSの順であった。また、標準偏差も、SGが最も大きく、TTO, RSの順であった。

一方、医学生の評価結果を表2に示した。SGによる効用値では、平均値および標準偏差とも専門医・医学研究者の測定結果とほぼ一致した値を示していた。また、その他の測定法による効用値でも同様な傾向を示していた。

表1 ムコ多糖症の生活の質 (効用) の評価 (専門医, 医学研究者, N=6)

健康状態	RS	TTO	SG
MPS : I H (Hurler症候群)	0.15 (0.10)	0.29 (0.14)	0.33 (0.23)
MPS : I S (Scheie症候群)	0.64 (0.27)	0.63 (0.27)	0.69 (0.35)
MPS : II (Hunter症候群, 重症型)	0.22 (0.11)	0.30 (0.13)	0.35 (0.21)
MPS : II (Hunter症候群, 軽症型)	0.64 (0.29)	0.66 (0.29)	0.69 (0.35)
MPS : III (Sanfilippo症候群)	0.18 (0.07)	0.33 (0.14)	0.35 (0.21)
MPS : IV (Morquio症候群)	0.39 (0.21)	0.52 (0.28)	0.62 (0.28)

RS : 評点尺度, TTO : 時間得失, SG : 基準的賭け
数値 : 平均値 (標準偏差)

表2 ムコ多糖症の生活の質 (効用) の評価 (医学生, N=93)

健康状態	RS	TTO	SG
MPS : I H (Hurler症候群)	0.03 (0.20)	0.26 (0.17)	0.24 (0.21)
MPS : I S (Scheie症候群)	0.36 (0.21)	0.62 (0.20)	0.70 (0.25)
MPS : II (Hunter症候群, 重症型)	0.08 (0.20)	0.32 (0.19)	0.30 (0.23)
MPS : II (Hunter症候群, 軽症型)	0.42 (0.25)	0.71 (0.19)	0.76 (0.24)
MPS : III (Sanfilippo症候群)	0.11 (0.20)	0.32 (0.19)	0.35 (0.26)
MPS : IV (Morquio症候群)	0.22 (0.22)	0.47 (0.22)	0.54 (0.27)

RS : 評点尺度, TTO : 時間得失, SG : 基準的賭け
数値 : 平均値 (標準偏差)

効用値について、専門医・医学研究者と医学生との相関を見ると、両者の相関係数は、RS 0.98, TTO 0.98 (図1), SG 0.97と高かった ($p < 0.05-0.01$)。

SGによる測定を基準とした他の測定法との相関係数を表3, 4に示した。専門医・医学研究者では、いずれの測定法も効用値の高い軽症の型では有意な相関が認められた。一方、医学生では、いずれの測定法、健康状態でも有意な相関が認められた。とくに効用値の高い健康状態では相関係数が高かった。測定法別に見ると、TTOはRSに比べて、効用値の高い健康状態では相関係数が高く、効用値の低い場合は一定の傾向が認められなかった。また、対象者別では、専門医・医学研究者の相関係数が医学生に比べて高かった。

考察

ムコ多糖症の健康状態について、生活の質

(効用)による評価を試みた。多様な健康状態に関する既存の効用値の情報と比較すると(表5)8), 比較的軽症なI型SおよびII型軽症, IV型は、効用値は望ましい健康1に近く、更年期症状と同様な値であった。一方、重症なI型HおよびII型重症, III型は、重度から中度狭心症ないし病院での腎透析と同様な値を示していた。

効用値の評価対象者としては、スクリーニングを社会的政策として実施する場合、一般住民が適切な対象となる。しかしながら、稀な疾患の場合は、健康状態の理解と評価は困難な課題と考えられる。その意味で、今回は、疾患の病状、経過、治療内容など、疾患の全般にわたって十分な理解と知識を持っている専門医・医学研究者を対象とした。ただし、自分自身が患者となったことを前提として評価を行うため、患者(ないし家族)と異なり、直接経験をしてい

専門医、医学研究者

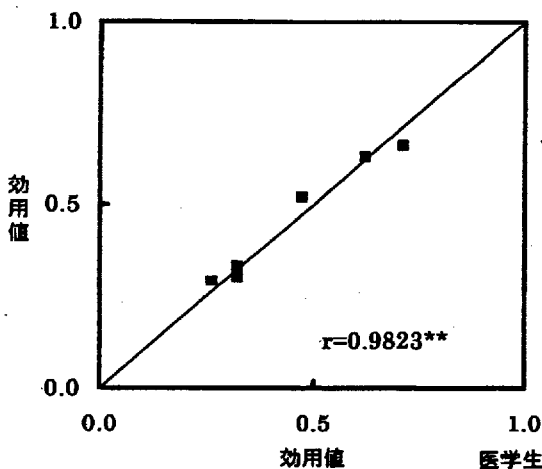


図1 ムコ多糖症の効用値の比較 (時間得失)

表3 ムコ多糖症の生活の質(効用)の評価の妥当性 (基準的賭けとの相関係数) (専門医・医学研究者, N=6)

健康状態	RS	TTO
MPS: I H (Hurler症候群)	0.63	0.49
MPS: I S (Scheie症候群)	0.90*	0.92**
MPS: II (Hunter症候群, 重症型)	0.63	0.73
MPS: II (Hunter症候群, 軽症型)	0.92**	0.95**
MPS: III (Sanfilippo症候群)	0.71	0.83*
MPS: IV (Morquio症候群)	0.76	0.93**

RS: 評点尺度, TTO: 時間得失
* $p < 0.05$, ** $p < 0.01$, *** $p < 0.001$

表4 ムコ多糖症の生活の質(効用)の評価の妥当性 (基準的賭けとの相関係数) (医学生, N=93)

健康状態	RS	TTO
MPS: I H (Hurler症候群)	0.25*	0.23*
MPS: I S (Scheie症候群)	0.53***	0.62***
MPS: II (Hunter症候群, 重症型)	0.21*	0.27**
MPS: II (Hunter症候群, 軽症型)	0.45***	0.74***
MPS: III (Sanfilippo症候群)	0.51***	0.40***
MPS: IV (Morquio症候群)	0.43***	0.58***

RS: 評点尺度, TTO: 時間得失
* $p < 0.05$, ** $p < 0.01$, *** $p < 0.001$

ない点に問題が残される。

一方、医学生でも同様な結果が得られ、専門医・研究者との相関も高かったことは、専門的な知識の無い者でも効用の測定が可能であることを示しており、一般人および患者でも測定可能なことを示唆している。従来の研究結果でも、患者を含めた多様な集団の間で測定結果に大きな差が認められていないことが報告されているが、今回の結果ともよく一致していた。

効用の評価方法について、どの評価方法が望ましいかという問題に関しては、現在も論議が多い。従来より、全ての測定の基準とされているのは、基準的賭けである。というのも、この方法は効用理論に基づく論理的整合性が高い方法であるからである。

ただし、基準的賭けは、死亡の危険を想定した評価を行うため、測定上判断が困難なことが多い。その代替法として開発されたのが、時間-得失法である。今回は、対象数の多い場合では、基準的賭けと有意な相関が認められ、その妥当性が示された。一方、評点尺度法は理論的な根拠に乏しいため、健康状態の順位評価に利用されているが、基準的賭けとの相関は時間-得失法に近い値を示しており、妥当性が認められた。ただし、評点尺度法の効用値は他の測定法に比べて絶対値が低いいため、その結果を利用する際には注意が必要と考えられる。

以上のように、今回の調査ではムコ多糖症の生活の質が効用により評価された。これらの調査結果は、生活の質を組込んだ経済的評価の可能性を示唆するものと考えられる。さらに一般住民あるいは患者・家族に対して調査を実施し、その有効性、信頼性、集団特性などを確立することが今後の課題と考えられる。

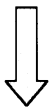
まとめ

ムコ多糖症スクリーニングの有効性を評価するための指標として、生活の質(効用)による評価を行った。方法としては、評点尺度法(RS)

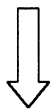
、時間得失法(TT0)、基準的賭け法(SG)を用いた。その結果、生活の質(死亡0、健康1)は、専門医・医学研究者による効用値(SG)を見ると、MPS:IH(Hurler症候群)0.33、MPS:IS(Scheie症候群)0.69、MPS:II(Hunter症候群、重症型)0.35、MPS:II(Hunter症候群、軽症型)0.69、MPS:III(Sanfilippo症候群)0.35、MPS:IV(Morquio症候群)0.62であった。その他の方法評価結果との間で有意の相関が認められたが、効用値は比較的低い傾向を示していた。また、専門医・医学研究者と医学生による評価結果の間には、有意な相関が認められた。

文献

- 1) 久繁哲徳：マス・スクリーニングのテクノロジー・アセスメント，日本マス・スクリーニング学会誌，4:21-29,1994
- 2) Guyatt GH, et al: Measuring health-related quality of life. *Ann Intern Med*, 118: 622-629, 1993
- 3) 久繁哲徳，西村周三，監訳：ドラモンドら，臨床経済学，篠原出版，1990
- 4) 折居忠夫：ムコポリサッカリドーシス，織田敏次ら，編，内科セミナー，MET3，高脂血症，259-274,1982
- 5) 折居忠夫，他：ムコ多糖症，小児科診療，55:2320-2325,1992
- 6) Neufeld EE, Muenzer J: The mucopolysaccharidoses, Scriver CR, et al eds, *The metabolic basis of inherited diseases*, 6th ed, McGraw-Hill, 1565-1587, 1989
- 7) 久繁哲徳，編：臨床判断学，篠原出版，1989
- 8) Torrance GW: Social preferences for health states, *Scio-Econ Plan Sci*, 10:129-136, 1976



検索用テキスト OCR(光学的文字認識)ソフト使用 論文の一部ですが、認識率の関係で誤字が含まれる場合があります



要約

ムコ多糖症スクリーニングの有効性を評価するための指標として、生活の質(効用)による評価を行った。方法としては、評点尺度法(RS)、時間得失法(TT0)、基準的賭け法(SG)を用いた。その結果、専門医・医学研究者による効用値(SG)(死亡0,健康1)は、MPS:IH(Hurler 症候群)0.33, MPS:IS(Scheie 症候群)0.69, MPS:II(Hunter 症候群,重症型)0.35, MPS:II(Hunter 症候群,軽症型)0.69, MPS:III(Sanfilippo 症候群)0.35, MPS:IV(Morquio 症候群)0.62であった。その他の方法による評価結果との間に有意の相関が認められたが、効用値は比較的低い傾向を示していた。また、専門医・医学研究者と医学生による評価結果との間には、有意な相関が認められた。

以上のように、今回の調査ではムコ多糖症の生活の質が効用により評価された。これらの調査結果は、生活の質を組込んだ経済的評価の可能性を示唆するものと考えられる。さらに一般住民あるいは患者・家族に対して調査を実施し、その有効性、信頼性、集団特性などを確立することが今後の課題と考えられる。