

研究計画書（研究用）

1. 研究の名称

慢性疾病を有する子どもの QOL および社会支援等に関する実態調査

2. 研究の実施体制

研究責任者：掛江 直子 国立成育医療研究センター 臨床研究センター 生命倫理研究室長

兼 研究所 小児慢性特定疾病情報室 スーパーバイザー

共同研究者：桑原 絵里加 国立成育医療研究センター 研究所 小児慢性特定疾病情報室 研究員

3. 研究の目的及び意義

【目的】

全国における小児慢性特定疾病児童とその保護者および家族の 1) 身体的・心理社会的状態の特徴とその変化を明らかにし、2) 属性、医療的状況、社会資源の状況との関連の検討から、3) 児と家族の QOL 促進に向けた支援を考察する。

【意義】

現在、医療技術の向上により慢性疾病を有する子どもの長期生存が可能となり、1990 年頃より患児の心理・社会的問題が着目されるようになった。欧米における先行研究の多くは児の疾病別に生活の質（QOL）の状態を検討したものであり、児の QOL と病状や治療内容には関連が認められるとの報告が散見される¹⁾³⁾。また、少数ながら、社会的支援と児の QOL に関連があるとの報告も見られる⁴⁾。わが国でも、少子化の中、2009 年度以降の小児慢性特定疾病の登録者数は約 10 万人で推移するなど、多くの児とその家族が支援を必要としていることが予測される⁵⁾。また、厚労省は、2015 年に、小児慢性特定疾病対策において児への支援のあり方として医療費助成のほか、医療の質の向上、児の健全育成・社会参加の促進、地域における自立支援の充実が定められた⁶⁾。さらに、小児慢性特定疾病児童等及びその家族のニーズを踏まえた支援の提供を目的として、国が患児の就労状況や生活実態の把握をはじめ、療養生活、自立支援、家族支援など疾病児童などの健全な育成に資する調査及び研究の実施及び充実に努めるとしている（平成 27 年度厚生労働省告示第 431 号）。本調査は、この基本方針を受け、厚生労働省の協力を得て実施するものである。

本研究班では、2014 年に北海道地区にて 8 歳から 22 歳の慢性疾病を有する者と保護者を対象とした大規模横断的調査、および保護者への半構造化面接法を用いた質的調査（承認番号 817）を実施した。実際に受けている支援や医療サービス・社会支援と身体的心理社会的問題を検討したところ、保護者には精神的ストレスや経済的負荷がかかっていること、就学支援や個別支援を求めていることが明らかとなった⁷⁾。これらの結果を踏まえ、児と保護者の状況の実態調査の対象地域を広げ、より具体的で適切な支援のあり方を明らかにする必要があると考えられた。昨年、第一回の調査が行われ、今後社会支援に変化が現れる可能性があるため、継続的に行いたいと考えている。また、昨年度の調査で、きょうだいへの支援について要望があり、きょうだい本人へも調査を行う必要性が示唆された。

そこで、本研究では全国における小児慢性特定疾病児童とその家族の 1) 身体的・心理社会的状態

の特徴を明らかにし、2) 属性、医療的状況、受けている社会資源との関連の検討から、3) 児と家族の QOL 促進に向けた支援を考察することとした。更に、昨年度に同様の調査を行った結果と照らし合わせ、身体的・心理社会的状態および支援状況の経年変化を追跡することで支援の介入による変化を明らかにすることとした。

4. 研究の方法及び期間

【研究デザイン】 横断研究

【アウトカム】 小児慢性特定疾病を有する児とその家族の QOL 尺度

【説明変数】 児とその家族が受けている社会的支援

【研究対象者】 小児慢性特定疾病認定基準を満たし、医療受給者証を有する児とそのきょうだい、およびその保護者。

<対象患児>

- ・0 歳以上 20 歳未満（調査実施時）の者（8 歳未満の者は保護者のみ回答）
- ・自記式調査に回答する場合は、患者本人より調査協力に対する同意（未成年者の場合にはアセント）が得られる者

※除外基準：知的・発達障がい等により本人用調査票に回答ができない者は、本人用調査の対象から除外する

<保護者>

- ・保護者の定義：本調査では、日常のケアに当たっている家族（できれば親権者）とする。1 児童に対して 1 人を想定する。

<きょうだい> きょうだいは、患児から見た兄、姉、弟、妹とし、対象年齢は 8 歳以上 18 歳以下とする。

【研究協力自治体の選定方法】

全国の小児慢性特定疾病対策実施主体(H30 月 1 月 1 日時点で 121 実施主体。政令指定都市の増加に伴い、増加の可能性あり)

【調査手順】

- 1) 当院の倫理審査委員会承認後、厚生労働省難病対策課を通じて各実施主体へ研究への協力を依頼する。
- 2) 各実施主体は、ウェブ上でアンケート回答するための URL/QR コードが記載された協力依頼文書を研究対象者宛に送付する。
- 3) 研究対象者（患者ならびにその家族）が自ら文書を読み、研究への協力を検討する。
研究へ協力することに同意した対象者は、説明書に記載されている URL/QR コードに PC もしくはスマートフォン等でアクセスする。
<ウェブ調査票の冒頭>同意欄をクリックすると次の画面に進む仕様とする。この同意欄へのチェックをもって同意を得たものとする。

＜次の画面＞アンケートを無記名で行う代わりに、ID とパスワードおよび患者生年月日を入力する。ID は、個々の小児慢性特定疾病医療費助成受給者証に記載された受給者証番号とする。パスワードは対象者が自由に設定可能とする。患者生年月日は、パスワードを忘れた場合に再発行する目的で患者の生年月日を予め登録しておく。

これらの ID、パスワード、患者生年月日を入力すると、質問画面に進む。途中で回答内容を保存し、再開することも可能である。

- 4) 児と家族の特徴を把握するために、コントロール群を設定する。コントロール群には、厚生労働省により実施されている国民生活基礎調査の結果から日常生活において何らかの介助を要さない児とその保護者による回答を抜粋する。
- 5) 患者が 19 歳以上の場合は、成人後の QOL や就労状況等の生活実態の把握を行う必要性を念頭に入れ、本調査終了後に別研究として成人患者コホート研究が計画された場合に協力の案内をお送りしてよい方には、名前と連絡先を入力していただく。

なお、この成人患者コホート研究については、本研究とは別の研究であるので、別途倫理審査委員会にて審査承認を得て実施する予定である。

【調査内容】（別添参照）

2017 年度の調査結果をふまえ、内容を整理する。具体的には、調査項目のうち、アウトカムに大きく影響しない、あるいは他の項目で代用可能な項目は削除する。変更後の内容については別紙参照。

・患者（年齢分岐；0-7 歳、8-12 歳、13-18 歳、19 歳）

1) 0-7 歳は保護者のみの回答とする。

2) 8-12 歳

- ①基本情報（身体的・社会的状況、人間関係、医療・社会的支援、社会参加の状態について、一部国民生活基礎調査の質問項目から選定したもの、および小児慢性特定疾病児童と保護者に特有の質問と考えられた項目。年齢により質問項目数が異なる。小児が答えられる内容に限る。）

②K6⁹⁾

K6 は、うつや不安症状のスクリーニングを目的とした 6 項目 5 件法の自記式質問用紙である。また、厚生労働省による国民生活基礎調査で使用されている。得点の範囲は 0～24 点であり、カットオフ値は 5 点とされている。高得点であるほど高リスクであることを示す。本調査では、国民生活基礎調査と同様に 12 歳以上の児へ使用する。

③PedsQL 日本語版¹⁰⁾（コアスケール 8-12 歳用）

PedsQL は、子どもの健康関連 QOL の測定を目的とした 23 項目 5 件法の自記式質問用紙である。4 下位尺度（身体的機能、感情の機能、社会的機能、学校の機能）をもち、ローデータを 0～100 点に換算し、身体サマリー得点と心理社会サマリー得点、総合得点を算出することができる。高得点であるほど、健康関連 QOL が良い状態であることを示す。

④DISABKIDS Chronic Generic Module 日本語版¹¹⁾

DISABKIDS は慢性疾患を持つ子どもの健康関連 QOL 測定を目的とした 37 項目の磁気式質問用紙である。前回の調査を受け、小慢患児の幅広い症状に対応することを目的として

PedsQL と両方調査することとした。

3) 13-18 歳

- ① 基本情報
- ② K6
- ③ 移行準備に関する質問
- ④ PedsQL 日本語版（コアスケール 13-18 歳用）
- ⑤ DISABKIDS 日本語版

4) 19 歳

- ① 基本情報
- ② K6
- ③ SF8
- ④ 移行準備に関する質問
- ⑤ PedsQL 日本語版（コアスケール 19-25 歳用）
- ⑥ 成人患者コホート研究に関する案内（19 歳以上）

本調査終了後に別研究として成人患者コホート研究が計画された場合に、協力の案内をお送りしてよい方には、名前と連絡先を入力していただく。

・保護者

- ① 基本情報（身体的・社会的状況、人間関係、医療・社会的支援、社会参加の状態について、一部国民生活基礎調査の質問項目から選定したもの、および小児慢性特定疾病児童と保護者に特有の質問と考えられた項目。年齢により質問項目数が異なる）

② K6

③ SF-8 スタンダード版¹²⁾

SF-8 は、健康状態を測定することを目的とした 8 項目の自記式質問用紙である。8 項目は、健康の 8 つの次元である身体機能、日常役割機能（身体）、体の痛み、全体的健康感、活力、社会生活機能、日常役割機能（精神）、心の健康を表す。この他に、身体的・精神的サマリースコアを算出することができ、50 点より高い得点は 2007 年の日本国民一般の平均よりも高いことを意味している。

④ PedsQL 日本語版 Proxy 用

患者が 0 歳から 7 歳の場合と、8 歳以上でも障がいのために回答できない場合は、保護者に PedsQL に回答いただく。

⑤ DISABKIDS 日本語版 Proxy 用

患者が 0 歳から 7 歳の場合と、8 歳以上でも障がいのために回答できない場合は、保護者に回答いただく。

・きょうだい（年齢分岐；8-12 歳、13-18 歳）

- ① 基本情報
- ② K6（12 歳以上）

③ PedsQL 日本語版（コアスケール、当該年齢用）

【結果の解析】

①記述統計

基本情報から、支援を受けている内容や希望、保護者の属性（続柄、性別、年齢、最終学歴、婚姻状況など）、子どもの属性（年齢、性別、疾病、身体的自立の程度など）、家族の属性（同居者、兄弟の人数）、保護者の就労状況、世帯収入合計、移行準備の状況、きょうだいの状況などを、実数と割合を記述する。また、PedsQL、DISABKIDS、K6、SF-8 の平均値、標準偏差、パーセント、最小値、最大値、四分位、K6 のカットオフ値以上の人数等を算出する。

②分散分析

子どもと保護者の属性を独立変数、PedsQL、DISABKIDS、K6、SF-8 の総合計点数（SF-8 はサマリースコア）を従属変数とし、1 要因配置分散分析を行い、群間の平均の差を検定する。

③探索的な解析

厚生労働省にて 2016 年 6 月に実施された国民生活基礎調査をコントロール群とし、K6 のカットオフ値以上の人数の群間比較、属性および K6 得点について群間の差の検定を実施する。属性、PedsQL、DISABKIDS、K6、SF-8 の得点について 2 変数間の相関を検証する。相関関係のある変数に対し単変量解析を行う。単変量解析にて有意差を認めた項目を独立変数に投入し、PedsQL、DISABKIDS、K6、SF-8 の総得点（SF-8 はサマリースコア）を従属変数として多変量解析を行う。地域差を分析するために、マルチレベル分析を行う。

【調査期間】 2019 年 1 月から 2019 年 2 月を予定

【研究期間】 倫理審査委員会承認後から 2022 年 3 月 31 日

5. 研究対象者の選定方針

小児慢性特定疾病に認定されている全ての患者とその保護者およびきょうだいとする。除外基準は特に定めないが、患者は質問を理解して回答できる 8 歳以上とする。なお、医療受給者証の継続者は 2013 年度で約 10 万 4 千件であった。2015 年からの新制度により小児慢性特定疾病児童数が増加している。

6. 研究の科学的合理性の根拠

本調査により、全国の小児慢性特定疾病児童と家族のニーズを把握し、さらに国民生活基礎調査の結果との比較により、その特徴を見出すとともに、ニーズに沿った身体的・精神的・社会経済的な支援を具体的に検討することが可能になる。特定の疾病に限定せず、かつ全国で実施されている国民生活基礎調査と比較を行う先行研究はなく、新規性の高い研究と考えられる。

7. インフォームド・コンセントを受ける手続等

文部科学省・厚生労働省告示第 3 号「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」（平成 27 年 4 月 1 日施行）を遵守し、対象者の人権保護を徹底して実施する。

対象者への説明は、別添の説明文書兼ウェブ調査の案内文書を用いて行い、本研究の意義ならびに方法等を理解してもらう。本研究への協力は、書面による同意は受けないが、ウェブ調査の登録画面において同意の意思を確認する選択ボタンをクリックしていただいた上で、自由意思にてウェブ調査に回答いただくものとする。また、途中での回答の中止は可能である中、回答の送信いただくことをもって回答者の自由意思による同意が得られたものとする。なお、同意の撤回の申し出があった場合は、実施主体名・受給者番号・患者の生年月日・性別にてデータを識別し、速やかにデータの削除の対応を行なう。

8. 個人情報等の取扱い

文部科学省・厚生労働省告示第3号「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」（平成27年4月1日施行）を遵守し、対象者の個人情報の保護を徹底して実施する。

具体的には、本調査は実施主体名、小児慢性特定疾病医療受給者番号、患者の生年月日、性別の情報を収集するが、これらの個人情報は疾病名など（一部の疾病では重症度を含む）を正確に識別する目的に使用する。調査票の集計・解析は、受給者番号とは異なる研究IDを振り直して実施する。なお、ウェブ調査は、SSL証明を取得し暗号化を行なっているため、第三者によるデータの盗用、情報漏洩のリスクはないと考える。

研究用のデータの保管は、原則として国立成育医療研究センター内で所定の電子媒体内に限ることとする。電子媒体を使用する際、コンピューターは原則インターネットには接続しない。

本研究結果の公表には、匿名化・統計学的解析後の数値を使用し、個人が特定されないものとする。

＊個人情報分担管理者：小児慢性特定疾病室/生命倫理室長 掛江 直子

9. 研究対象者に生じる負担並びに予測されるリスク及び利益

メリット：研究対象者に直接のメリットはないが、調査結果を社会に還元することへ参加できる点、および調査の結果が社会的支援につながった場合はその支援を直接受ける可能性がある点

デメリット：ウェブ調査回答に約 30 分間の拘束が予測されるため、説明文書にその旨を明記する。

10. 試料・情報の保管及び廃棄の方法

保管：結果の集計および統計学的解析を行うため、サーバーより CSV 形式でデータをダウンロードし、パスワードのついた USB に保存し、生命倫理研究室の鍵のかかるキャビネットにて保管する。電子データの閲覧・分析は、研究者のみがプライバシーの守秘できる場所で行う。

廃棄：電子化されたデータは研究期間終了後 5 年もしくは、研究結果の最終公表日から 3 年を経過するまで保管し、研究代表者がサーバー内の情報を完全に削除する。また、サーバーからダウンロードし、電子媒体に保存したデータは、保管期間経過後、個人の特定につながる情報を削除した上で長期的に保管を行い、研究成果の公表に努める。

11. 研究機関の長への報告内容及び方法

以下の項目の内容は研究責任者から研究機関の長に文書で報告する。

年次報告書の提出予定日：毎年度末

研究終了届の提出予定日：2022 年 3 月 31 日

12. 研究の資金源等、利益相反等

本調査研究にかかるすべての費用は、平成 28 年度厚生労働行政推進調査事業費補助金「小児慢性特定疾病対策の推進に寄与する実践的基盤提供にむけた研究」（課題番号：H28-難治等（難）-指定-004）にて支出される。

本調査において利益相反は生じない。

13. 研究に関する情報公開の方法

結果は、研究 ID を用いて集計、統計学的解析された結果のみの公表とする。なお、厚生労働科学研究費補助金の研究報告書ならびに学術雑誌等に報告する予定である。

14. 研究対象者等及びその関係者からの相談等への対応

問い合わせ先

研究責任者：掛江 直子

〒157-8535 世田谷区大蔵 2-10-1

国立成育医療研究センター 臨床研究センター 生命倫理研究室長

TEL：03-5494-7120（内線 7396），FAX: 03-3417-2694

E-mail：shouman-research@ncchd.go.jp

15. 代諾者等からインフォームド・コンセントを受ける場合の手続

本調査では、回答者ご本人から同意を得るため、該当なし

16. インフォームド・アセントを得る場合の手続

保護者へのインフォームド・コンセントを得る手続き（項目 7 参照）と同様に、別添の説明文書兼ウェブ調査の案内文書（患者さまならびにごきょうだい用）を用いて本調査への理解を得て、自由意思にてウェブ調査に回答いただくものとするため、ウェブ調査の研究参加についての同意欄の選択および回答の送信をもって同意が得られたものとする。同意の撤回の申し出があった場合は、速やかにデータ削除の対応を行なう。

17. 研究対象者に緊急かつ明白な生命の危険が生じる場合

該当なし

18. 研究対象者等に経済的負担又は謝礼がある場合

該当なし

19. 侵襲（軽微な侵襲を除く）を伴う研究

該当なし

20. 侵襲を伴う研究の場合

該当なし

21. 承認等を受けていない医薬品又は医療機器の使用等

該当なし

22. 遺伝的特徴等に関する取り扱い

該当なし

23. 業務委託の場合

ウェブ調査の入力内容は委託業者が保守管理しているサーバーに保管される。しかし、SSL 証明を取得し暗号化を行なっているため、第三者によるデータの盗用や情報漏洩のリスクはないと考える。

24. 将来の研究のために用いられる試料・情報について

該当なし

25. モニタリング及び監査について

該当なし

【引用文献】

- 1) Gerson AC, Wentz A, Abraham AG, Mendley SR, Hooper SR, Butler RW, et al. Health-related quality of life of children with mild to moderate chronic kidney disease. Pediatrics. 2010 February; 125(2): 349-357.
- 2) Fidika A, Salewski C, Goldbeck L. Quality of life among parents of children with phenylketonuria(PKU). Health and Quality of Life Outcomes. 2013 March; 11: 54.
- 3) Apers S, Luyckx K, Rassart J, Goossens E, Budts W, Moons P. Sence of coherence is a predictor of perceived health in adolescents with congenital heart disease: A cross-lagged prospective study. International Journal of Nursing Studies. 2013 June; 50(6): 776-785.
- 4) Seear M, Kapur A, Wensley D, Morrison K, Behroozi A. The quality of life of home-ventilated children and their primary caregivers plus the associated social and economic burdens: a prospective study. Arch Dis Child. 2016 Jul; 101(7): 620-627
- 5) 小児慢性特定疾病情報センター[ホームページ]. 東京: 平成 25 年度 今後の小児慢性特定疾病治療事業のあり方に関する研究 総括研究報告. http://www.shouman.jp/research/25_report. [参照 2017 年 7 月 27 日].
- 6) 小児慢性特定疾病情報センター[ホームページ]. 東京: 小児慢性特定疾病対策の概要 慢性疾患を

抱える子どもとその家族への支援の在り方について. <http://www.shouman.jp/about/#support>.
[参照 2017 年 7 月 27 日]

- 7) 掛江直子. 慢性疾患を有する児の身体的、心理社会的状態等の実態調査①Web 調査の結果. 厚生労働省科学研究費補助金 成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業（健やか次世代成育総合研究事業）慢性疾患に罹患している児の社会生活支援ならびに療育生活支援に関する実態調査およびそれらの施策の充実に関する研究. 平成 27 年度研究報告書 2016: 11-33.
- 8) 掛江直子. 慢性疾患を有する児の身体的、心理社会的状態等の実態調査②介助を有する慢性疾患患児の保護者が抱える不安や希望する支援等に関する質的調査. 厚生労働省科学研究費補助金 成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業（健やか次世代成育総合研究事業）慢性疾患に罹患している児の社会生活支援ならびに療育生活支援に関する実態調査およびそれらの施策の充実に関する研究. 平成 27 年度研究報告書 2016: 34-43.
- 9) 川上憲人, 近藤恭子, 柳田公佑, 古川壽亮. 成人期における自殺予防対策のあり方に関する精神保健的研究. 平成 16 年度厚生労働省補助金（こころの健康科学研究事業）自殺の実態に基づく予防対策の推進に関する研究 分担報告書.
- 10) Kobayashi K, Kamibeppu K. Measuring quality of life in Japanese children: Development of the Japanese version of PedsQL™. *Pediatrics International*. 2010; 52: 80-88.
- 11) Sasaki H, Kakee N, Morisaki N, Mori R, Ravens-Sieberer U, Bullinger M. Assessing health-related quality of life in Japanese children with a chronic condition: validation of the DISABKIDS chronic generic module. *Health Qual Life Outcomes*. 2018 May 2;16(1):85.
- 12) 福原俊一, 鈴鴨よしみ. SF-8 日本語版マニュアル. 京都: 特定非営利活動法人健康医療評価研究機構; 2004.