博士論文の要旨及び審査結果の要旨

氏　　名	田﨑知恵子
学　　位	博士（保健学）
学位記番号	新大院博（保）甲第２３号
学位授与の日付	平成３０年　３月２３日
学位授与の要件	学位規則第４条第１項該当
博士論文名	ムコ多糖代謝異常症Ⅱ型の児を養育する親が抱える酵素補充療法に伴う課題の明確化
論文審査委員	主査　中村　勝 副査　村松芳幸 副査　内山美枝子

博士論文の要旨

本論文の目的は、先天性ムコ多糖代謝異常症Ⅱ型（MucopolysaccharidosisⅡ；以下、MPSⅡ型）の治療法である酵素補充療法（Enzyme replacement therapy；以下、ERT）の継続に伴う患児の親の課題を明確にすることである。

論文は５つの章立てで構成され、主な成果は第３章、第４章にまとめられている。

第１章では研究の着想に至る学術的背景と研究の概要が述べられている。MSPⅡ型は希少難病であり、ERT には限界性や負担がかかるため治療継続の可否は当事者にとって重要な課題であると述べられている。

第２章では対象と方法が述べられている。対象は患児を養育する親 20 人、調査期間は 2012 年４月～2015 年３月、方法は半構造化面接法による情報収集と修正版グラウンデットセオリーアプローチの手法を参考にした質的分析であり、新潟大学大学院保健学研究科研究倫理審査委員会の承認（第 90 号）を受けている。

第３章では結果が述べられている。対象の概要は軽症型５人の親６人（母親４人、両親１組）、平均年齢 44.3 歳（38～48 歳）、児の平均年齢 12.6 歳（8～16 歳）、ERT 継続期間は平均５年６か月。また重症型 11 人の親 14 人（母親７人、父親１人、両親３組）、平均年齢 47.93 歳（38～59 歳）、児の平均年齢 15.3 歳（9～26 歳）、ERT 継続期間は平均５年８か月である。分析の結果、軽症型の児を養育している親からは【精神的打撃から脱出できた酵素補充療法への期待】【酵素補充療法を受けることに対する負担感を上回る安堵と喜び】【酵素補充療法と学業の両立実現のための健闘と葛藤】【酵素補充療法の継続困難や病気進行への懸念】【家族の成長感と親役割の意欲】【社会的支援と新治療開発への期待】の６つのカテゴリーが抽出され、このことから診断告知の衝撃を乗り越えて ERT の継続を願い、将来に不安を抱きつつも新しい治療の開発に期待を寄せていることが明らかにされている。また重症型の児を養育している親からは【病名告知の衝撃にも変わらない児への愛情と腐心しながらの育児】【迷いながら選択した ERT に効果を得て奮闘する児の世話】【児ときょうだいたちへの限りない愛情と親役割の遂行】【病気の進行への懸念と不憫に思う児の世話を一心に担う親】【ERT を継続することへの迷いと

児にとっての最良を模索する日々】【委ねられた児の命が平穏な家族の生活の中で全うできることへの願い】の 6 つのカテゴリーが抽出され、診断告知に衝撃を受けながらも児に愛情を注ぎ、迷いながら選択した ERT に期待しつつ児の世話を続けていたことが明らかになったが、一方で ERT には限界があることを実感しており、治療の選択をめぐって苦悩しているが、
平穏に過ごすことを重視していることが明らかになったと述べられている。

第 4 章と第 5 章では上記の結果から疾病の区分（軽症型か重症型か）によって ERT の捉え方、体験には違いがあり、軽症型の患児の親は ERT を継続できるように新治療の開発に関心を持っていたが、重症型の患児の親は ERT を最優先ではなく患児にとって最善策を模索していたことの違いが明らかになった。そうしたことから家族の希望や信念を尊重した治療選択、意思決定のための支援が必要だと示唆されたと述べられている。

審査結果の要旨

本論文は希少難病における親の課題を浮き彫りにしている点において新規性があり、今後の支援方法の検討や社会的保障の議論の契機になり得る研究として貴重なデータであると考えられる。

検討を要する点としては、第 1 章の研究目的にある親の体験は論文中に分かりやすく記述されていたが、治療の継続に伴う親の課題を見出すことが目的であれば、分析のプロセスは考察より結果で示す方が望ましいと考えられる。また見出した課題も端的に記述されているとよい。

第 2 章の方法と分析では、対象者はMPSⅡ型の親を母親と父親に分けずに分析されていたが、本疾患は伴性劣性遺伝であるため母親が保因者であることが確定している。そのことから保因者ではない、もう一方の親との立場の違いに配慮した考察があってもよかったのではないかと考えられる。対象者の親は子どもの治療に積極的であり、実態に即したデータが乏しい側面に焦点を当てた考察ができれば、さらに新しい知見が得られたと思われる。さらに、先行文献を検証し論文中に用いる用語や概念の分析を踏まえて調査が実施されていればより望ましい。質的分析ではカテゴリーの分類上、上位になると抽象度が高くなるが、本論文ではカテゴリーとサブカテゴリーは同位と思われた。

別の視点からは、軽症型、重症型という表現方法が用いられていた理由についての問いに対し、先行文献にある表現に従った旨の説明があった。また、軽症型と重症型に区分される時期についての問いに対し、精神発達遅滞の有無や幼児期以降に判明するが、さらに早い乳児期では関節の硬さや言葉の発達の遅さで気づく可能性がある旨の説明があった。論文中に早期に治療を開始することが重要との記述があったことから、軽症型か重症型かを判別する以前に ERT を開始する判断も重要ではないかとの問いに対しては、その判断は医師によるが区分に係らず早期に十分な説明が行われている現状について説明があった。患児以外の健常なきょうだいに対する親の課題にも質疑が及んだが、先行文献では顕在化しない問題を持っていることもあるらしいことが紹介され、本研究ではそうした結果は見出されず、むしろ親は誇りを持っていたという応答があった。

発表内容はよく整理されており、分かりやすく、質疑に対する応答も総じて明確であった。