

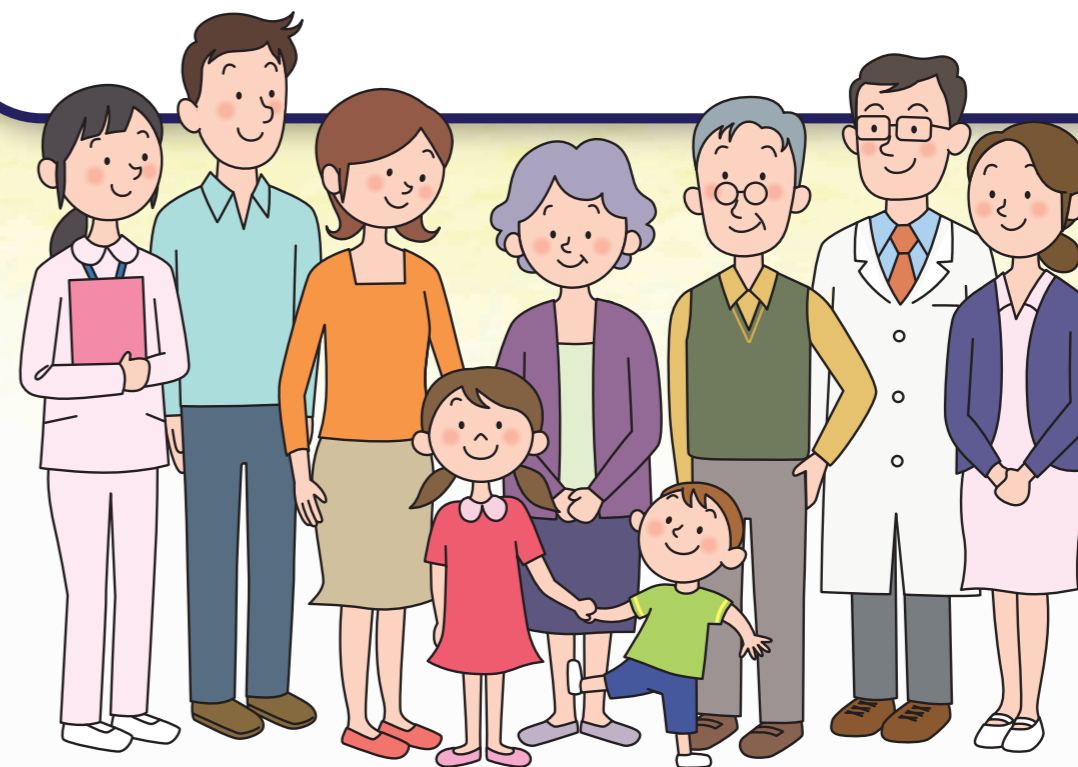
一緒に知ろう 一緒に始めよう

指定難病 患者^{もうしで}申出制度とは？

お困りのことがあれば、担当医または下記までご相談ください。

一緒に知ろう 一緒に始めよう

指定難病 患者^{もうしで}申出制度とは？



指定難病患者申出制度は、指定難病の追加に向け
患者さんの声を届けるためのものです。
あなたの申出が、医療や研究の支援のための
スタートになるかもしれません。
この機会に制度を正しく知っておきましょう。

監修 ○○ ○○ 先生 (○○○○○○○○○○○○○○○○)



Contents

- はじめに 2
- 指定難病患者申出制度について 3
- もっと詳しく知っておきましょう① 指定難病患者申出制度とは 4
- 指定難病を知るためのホームページ 5
- もっと詳しく知っておきましょう② 指定難病の認定の流れについて 7
- 指定難病患者申出制度と難病のQ&A 9

はじめに

国の難病対策として、難病の患者さんが安心して治療をつづけられるよう支援をするために、指定難病の患者さんに対して医療費助成の制度があります。

また、国は治療法の研究についても支援を行っており、指定難病については研究を行う研究班があります。

しかし、難病の種類は多くまだ指定難病になっていない病気も少なくありません。患者さんの申出を起点として、指定難病への追加の検討がおこなわれることで、数の多い難病から新しく指定難病となる病気がでてくる可能性があります。

研究班のない病気についても公平に検討される機会を確保するため、患者さんからの申出を起点として指定難病への追加を検討する「指定難病患者申出制度」ができました。

これにより、難病の患者さんに対する、よりよい医療と支援につながることが期待されます。



※難病とは、患者数が少なく、病気の原因が解明されていない、まだ根本的な治療法が確立されていないために長い期間治療が必要な病気のことをいいます。

「指定難病患者申出制度」について

●指定難病と診断されたら

指定難病の患者さんに対しては国から医療費が助成されます。さらに、国は治療法などの研究をする研究班に対しても支援をおこなっています。



難病

■難病の4要件

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

患者数による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病を幅広く対象とし、調査研究・患者支援を推奨

例：悪性腫瘍は、がん対策基本法において体系的な施策の対象となっている

指定難病

難病の内、以下の要件を全て満たすものを、患者のおかれている状況からみて良質かつ、適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定

医療費助成の対象

- 患者数が本邦において一定の人数*に達しないこと
- 客観的な診断基準(又はそれに準ずるもの)が確立していること

*人口のおおむね千分の一(0.1%)程度に相当する数と厚生労働省令において規定している。

厚生労働省 資料抜粋

指定難病への追加における2つのルート

- ①患者さん本人からの申出
- ②難病に関する研究班や関係学会からの申出

指定難病への追加に関する検討

●現在の指定難病の追加の検討とは

難病の中で、一定の要件を満たした場合、専門家によって検討され、その結果を受けて、指定難病に追加されます(現在、指定難病は331疾病[平成31年3月時点])。

現在の指定難病の追加の検討においては、難病に関する研究班や関係学会から、指定難病の検討に資する情報が整理されたとされた病気について申出をおこなうこととなっています。

●指定難病患者申出制度とは (詳しくは5ページをご参照ください)

申出の要件を満たした難病の場合、指定難病患者申出制度を利用して、指定難病への追加の検討に向け、患者さんから直接申出ることができるようになりました。



●患者さんからの申出の手順 (詳しくは7・8ページをご参照ください)

手続きの準備
 診断した医師による「診療情報提供書」が申出には必要です。まずは、かかりつけのお医者さんにご相談下さい。

難病診療連携拠点病院(外来)を受診・相談
 ※必ず難病診療連携拠点病院の申出窓口についてホームページ等で確認して下さい。
 ※申出については代理として家族、主治医、患者会も可能です

難病診療連携コーディネーターから報告

厚生労働省

指定難病検討委員会 など
 専門家による検討・判断

厚生労働省

指定難病への追加

- 医療費の助成
- 治療法などの研究をおこなう研究班の確保など



医療機関と一緒に進めて行きましょう

もっと詳しく知っておきましょう①

指定難病患者申出制度とは

指定難病患者申出制度とは患者さんから指定難病への追加に向け、申出をおこなうことができる制度です。

難病の患者さんが安心して治療や療養をつづけるために、医療、日常生活、社会生活など多方面から支えることが必要です。しかし、指定難病ではない難病については、数も多く医療費の助成や研究のための学術支援などが難しい場合があります。

指定難病への追加の検討にあたっては、今までは学会や研究グループなどが病気の情報を集めて申出をしていました。しかし、病気の種類によっては患者数が少なく研究が進まなかったり、研究グループがなかったりするなど、検討されるまでに長い時間がかかることがありました。そこで**指定難病患者申出制度**がつけられました。

患者さんご自身が指定難病への追加の検討に向け申出ることによって検討が行われ、その中には新しく指定難病となる病気がでてくる可能性があります。

※指定難病の医療費助成とは、患者さんやご家族の所得に応じて、治療に要した医療費が助成されます。

- 指定難病の検討は、患者さんが少なくとも国内に1名いることで行われます。
- 指定難病の検討に、患者さんの年齢制限はありません。
子どもの難病も対象に含まれます。ただし、既に小児慢性特定疾病に指定されている病気は対象外となります。
- 研究班では、専門家が治療法などを研究します。



指定難病を知るためのホームページ

難病のあらゆる情報を公開

難病情報センター

<http://www.nanbyou.or.jp/>



各指定難病の解説・診断基準・臨床調査個人票のほか、国の難病対策、各種制度・支援情報、医療提供体制情報、障害福祉サービス、患者会情報、都道府県担当窓口などを掲載しています。また、厚生労働省が実施している難治性疾患克服研究事業に関する情報も公開されています。

国の難病対策の“いま”がわかる

厚生労働省 難病対策

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/kenkou/nanbyou/index.html



指定難病の一覧(概要、診断基準、臨床調査個人票)、医療費助成制度や難病法にかんする情報が公開されています。また、政令・省令、厚生科学審議会・難病対策委員会における審議内容の報告など、現在の国の難病対策の取り組みがわかります。

難病における雇用対策がわかる

厚生労働省 難病患者の就労支援

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/koyou_roudou/koyou/shougaisakoyou/06e.html



ハローワークにおける職業相談・職業紹介、難病患者就職サポーターなど就労支援に関する情報が公開されています。各種雇用支援策リーフレットなどもダウンロードできます。雇用側である事業主向けの情報も掲載。

最新の難病研究を掲載

難病医学研究財団

<http://www.nanbyou.jp/>



難病情報センターを運営する難病医学研究財団のウェブサイト。同団体が開催する市民公開講座、指定難病に関する臨床試験(治験)の実施されている機関のホームページリンクを掲載しています。または、同団体の助成事業、最新の難病研究がわかります。

希少疾患の国際的な情報を提供

Orphanet Japan

<http://www.orpha.net/national/JP-JA/index/home/>



希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル「Orphanet」の日本版。Orphanetは希少疾患の患者さんの診断、ケアおよび治療の向上への寄与を目的としており、約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営されています。

患者・家族会団体のホームページ

一般社団法人
日本難病・疾病団体協議会

<https://nanbyo.jp/>



難病、長期慢性疾患、小児慢性疾患等の患者団体の中央団体である日本難病・疾病団体協議会(JPA)の公式ホームページ。同団体が開催する難病・慢性疾患全国フォーラムなどのイベント、難病患者サポート事業の情報、加盟する患者会の一覧が掲載されています。

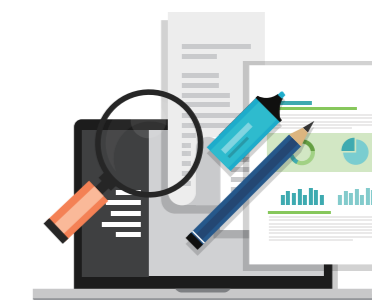
難病患者・家族の
生活に役立つ情報を掲載

難病ドットコム

<http://jpma-nanbyou.com/index.aspx>



難病の一つクローン病の患者さんのみで設立された三雲社が運営するホームページ。各疾患の情報や難病に関するニュースのリンクなど、患者さんの視線で難病や希少疾患、慢性疾患の患者さんとその家族の日々の生活に役立つ情報を掲載しています。



もっと詳しく知っておきましょう②

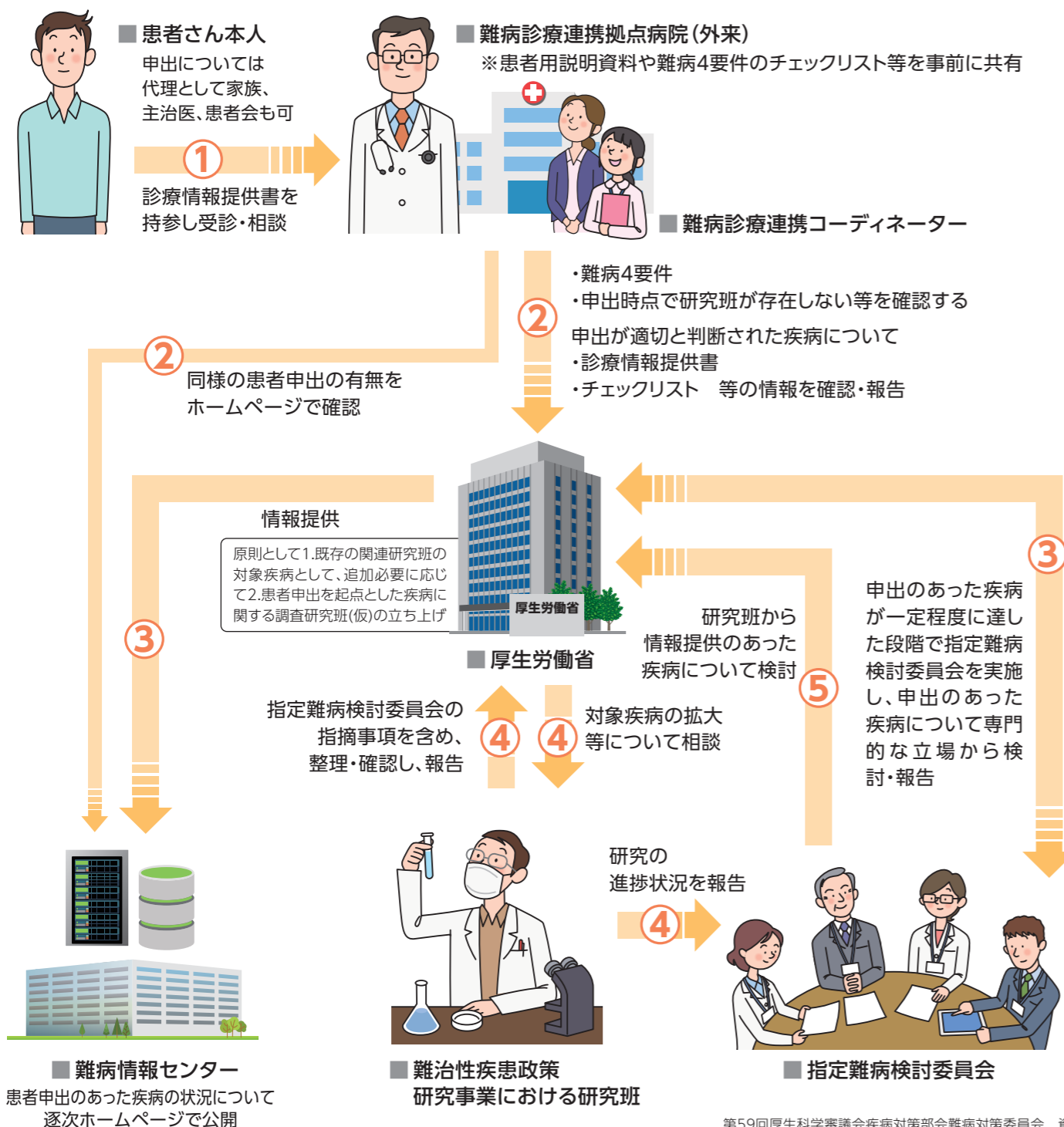
指定難病の認定の流れについて

難病診療連携拠点病院で申出が適切と判断された場合、**難病診療連携コーディネーター**から厚生労働省に報告します。その後、**指定難病検討委員会**において指定難病の要件等について確認し、**難治性疾患政策研究事業における研究班**の検討を経て、指定難病へ追加するか否かの検討が行われます。

患者さんから申出のあった病気が指定難病検討委員会で検討された際には適宜、**難病情報センター**のホームページで情報が公開されます。

※子どもの難病については、小児慢性特定疾病という制度に含まれていない場合が対象になります。

指定難病患者申出制度による追加検討の進め方



第59回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会 資料抜粋

1 申出制度を利用したいと思ったときにすること

- まず、厚生労働省のホームページ等で申出制度について確認しましょう。
- かかりつけ医等を受診し、拠点病院宛に診療情報提供書(紹介状)を作成してもらってください。(その際を受診する診療科についても確認することが良いでしょう。)

1 拠点病院を受診する前に患者さんが確認すること

- 受診する拠点病院のホームページ等を確認し、申出の窓口を確認しましょう。
- 申出の窓口で申出の流れ等について確認をしましょう。
- 受診の際には**拠点病院のHP等で申出の受付方法等について確認**しましょう。
- 拠点病院を受診する時は**患者さん本人の受診**が必須です。
- 申出者は原則として患者さん本人としますが、ご本人の状況に応じて、**家族や主治医、患者会による代理の申出も可**となります。

2 申出において難病診療連携コーディネーターが確認すること

- 申出の流れや必要な手続きについて、難病診療連携コーディネーターとよく相談してください。
- 難病診療連携コーディネーターは、診断名を確認後、以下の点を難病情報センターのホームページで確認します。

- ・既存の指定難病に含まれないこと
- ・既存の小児慢性特定疾病に含まれないこと
- ・過去に同様の申出がないこと
- ・申出の時点で研究班が存在しないこと

- 確認後、上記4点を全て満たす場合には難病診療連携コーディネーターから申出が可能であることを患者さんへ説明します。なお、上記4点のいずれかを満たさない場合は、患者さんへその旨を難病診療連携コーディネーターから説明します。

2 難病診療連携拠点病院の医師がおこなうこと

- 受診した**患者さん本人**について診療情報提供書を基に**診察**し、診療情報提供書の情報について確認します。
- 難病の4要件を確認するためのチェックリスト等を参考に**難病4要件について確認**をおこないます。
- 難病4要件を確認後、その結果を難病診療連携コーディネーターへ連絡します。その際、必要に応じて申出者へ難病4要件の確認の結果について説明をします。

2 医師の診察後に難病診療連携コーディネーターがおこなうこと

- 難病診療連携コーディネーターが医師からの報告を受けた後、申出が適切と判断された場合、難病診療連携コーディネーターは申出のための**難病の4要件を確認するためのチェックリスト**等を厚生労働省難病対策課へ提出します。

3 申出後に厚生労働省がおこなうこと

- 厚生労働省は、申出のあった疾病について、難病診療連携拠点病院から提出された難病の4要件を確認するためのチェックリスト等の情報を確認します。
- 申出のあった疾病について、難病情報センターへ**申出の受付をおこなったこと**を情報提供します。
- 難病情報センターは情報提供のあった疾病についてHPへ掲載します。

3 申出について指定難病検討委員会でおこなうこと

- 申出のあった疾病が一定程度に達した段階で指定難病検討委員会を実施し、申出のあった疾病について専門的な立場から、以下の事項を確認します。
- ・情報整理を行う研究班について(既存または新規研究班のどこで情報の確認が必要か)
- ・指定難病として検討するまでに整理が必要な情報について(チェックリストで非該当の箇所はどこか)
- 検討結果を厚生労働省へ報告します。

4 申出について研究班でおこなうこと

- 研究班では指定難病検討委員会の指摘事項を含め、以下の事項*について整理を行い、確認が出来た時点で厚生労働省へ報告します。
- ※・患者数について・発病の機構の解明の状況・効果的な治療方法の有無・長期の療養の必要性の有無・客観的な診断基準の有無・重症度分類の有無
- 厚生労働省は研究班の情報整理の結果を難病情報センターへ情報提供します。
- 難病情報センターはHPへ申出のあった疾患の検討状況についての情報を掲載します。

4 研究班において指定難病の検討に資する情報が整理された場合

- 研究班から指定難病の検討に資する情報が整理されたと判断された場合、研究班から指定難病検討委員会へ情報提供(疾病の追加を要望)します。
- ※通常の指定難病の追加の検討と同様の流れとなります。

5 指定難病検討委員会でおこなうこと

- 研究班から指定難病の検討に資する情報が整理されたと報告された場合、指定難病検討委員会において研究班から情報提供のあった疾病について指定難病の各要件を満たすか検討します。
- 検討の結果、指定難病として認められれば、指定難病として追加されます。
- ※通常の指定難病の追加の検討と同様の流れとなります。

指定難病患者申出制度と難病のQ&A

Q 自分の病気が既存の「指定難病」又は「小児慢性特定疾病」に含まれるか、すでに申出がされている病気かどうかわかりません。病院を受診する前に調べる方法がありますか？

A 難病情報センター又は小児慢性特定疾病センターのホームページで病名を検索することができます。既に指定されている病気かどうかをご確認ください。
また、すでに同様の申出がされているか否かについても難病情報センターのホームページで確認することができます。
ホームページを確認してもわからない場合は、かかりつけの医療機関にご相談いただくか、難病診療連携コーディネーターへ問い合わせる等によりご確認ください。

難病情報センター
<http://www.nanbyou.or.jp/>



小児慢性特定疾病センター
<https://www.shouman.jp>



Q 申出をするために、患者はまず何をすればいいですか？

A まずはかかりつけの医療機関で診察をしてもらってください。診断してもらったら診療情報提供書(紹介状)を作成してもらってください。
また、診断名や難病診療連携拠点病院(以下、拠点病院という。)のどの診療科を受診するべきかについて、かかりつけ医に確認することが望ましいです。

Q 診療情報提供書を持たずに拠点病院を受診した場合はどうなりますか？

A 診療情報提供書を持たずに拠点病院を受診した際の取り扱いは病院により異なりますので、受診する予定の病院のホームページ等でご確認ください。

Q 申出を希望しますが、誰でも申出することは可能ですか？

A 申出者は原則として患者さんご本人ですが、本人の状況に応じて、家族や主治医、患者会による代理の申出も可能です。
ただし、拠点病院を受診する際は患者さんご本人が受診する必要があります。その後の申出については、ご本人以外でも可能です。



Q 指定難病患者申出制度における検討のために指定難病検討委員会が開催される頻度はどのくらいですか？

A 申出のあった疾病が一定程度に達した段階で指定難病検討委員会が実施されます。したがって、当該委員会の開催頻度は規定しておりません。

Q 申出のあった疾病について指定難病検討委員会では何を行いますか？

A 申出のあった疾病について専門的な立場から、以下の事項を確認します。
・情報整理を行う研究班について(既存または新規研究班のどこで情報の確認が必要か)
・指定難病として検討するまでに整理が必要な情報について(チェックリストで非該当の箇所はどこか)

Q 原則、「既存の関連研究班の対象疾病として追加する」とありますが、原則に当てはまらない場合はどんな場合ですか？

A 指定難病検討委員会の判断に基づき、厚生労働省は難治性疾患政策研究事業の研究班に対して、対象疾病として追加することが可能か否か等について相談します。その際、難治性疾患政策研究事業の研究班で情報整理が難しいと判断された場合には、当該原則の限りとはなりません。
この場合、必要に応じて指定難病検討委員会において疾病の情報整理をおこなう研究班について再度検討をします。

Q 研究班ではどのような情報を整理するのですか？

A 研究班では指定難病検討委員会の指摘事項を含め、以下の事項について整理を行い、確認が出来た時点で厚生労働省へ報告します。
・患者数について ・発病の機構の解明の状況 ・効果的な治療方法の有無
・長期の療養の必要性の有無 ・客観的な診断基準の有無 ・重症度分類の有無



Q 研究班において、指定難病の検討に資する情報が整理された場合、すぐに指定難病に認定されますか？

A 指定難病検討委員会において難治性疾患政策研究班から情報提供のあった疾病について指定難病の各要件を満たすか検討します。
したがって、情報整理後すぐに指定難病となるわけではございません。

Q 申出から疾病追加されるまで、どのくらい期間がかかりますか？

A 申出のあった疾病が一定程度に達した段階で指定難病検討委員会の開催を予定していますので一律の期間を明示することはできません。



Q 申出をした疾病の検討状況はどのように確認すればよいですか？

A 厚生労働省は申出のあった疾病の検討状況等について、随時、難病情報センターへ情報提供を行います。難病情報センターは情報提供があった疾病についてホームページ(URL)に掲示しますので、当該ホームページをご確認ください。

難病情報センター
<http://www.nanbyou.or.jp/>



一緒に知ろう

指定難病患者 データベースとは？



指定難病患者データベースとは、
臨床調査個人票に記載されている患者さんの医学的な情報を集積したデータベースです。
患者さんの貴重な臨床データを集積し、新しい治療法の開発や
患者さんへの適切な支援につなげていくことを目的としています。
この機会に指定難病患者データベースや臨床調査個人票について正しく知っておきましょう。

監修 ○○ ○○ 先生 (○○○○○○○○○○○○○○○○○○)

一緒に知ろう

指定難病患者 データベースとは？

お困りのことがあれば、担当医または下記までご相談ください。



Contents

● はじめに	2
● 指定難病患者データベースとは？	3
● 臨床調査個人票とは？	4
● データベースに登録される 臨床調査個人票の記載項目	5
● 難病データベースへの登録・利用の流れ	7
● Q&A	9
● 指定難病を知るためのホームページ	10

はじめに

難病患者さんを支える総合的な対策のために「難病対策の基本理念」があります。この「難病対策の基本理念」を達成する上で、最も重要なことは、「難病の克服」です。

現在、難病の研究を推進するため、臨床調査個人票に記載されている患者さんのデータを集積した「指定難病患者データベース」の構築が始まっています。

難病は希少疾病であり患者数が少ないため、研究を行うために必要なデータが集まりにくく、他の疾患に比べて病態の把握、新薬や新しい治療法の開発が難しいという課題があります。そのため、患者さんの臨床データを集積し、難病の克服に向けた研究等に活用することを目指し、データベースを構築することとなりました。

今後は、データベースに蓄積された情報を適切かつ有効的に活用し、難病の研究や施策の立案に役立てることで、患者さんやそのご家族、そして社会にとって、よりよい難病対策が行われると期待されています。

これまでの難病対策も難病に立ち向かう患者さんやご家族の方々の方々の力によって支えられてきましたが、本書をきっかけに、「臨床調査個人票」と「指定難病患者データベース」の理解を深め、難病研究のさらなる推進にご協力いただきたいと思います。

難病対策の基本理念

- 難病*の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。

*原因不明で、治療方法が未確立であり、生活面で長期にわたり支障が生じる疾病のうち、がん、生活習慣病等別個の対策の体系がないもの

- 国による基本方針の策定
難病対策に係る基本方針を定め、医療や研究開発の推進を図るとともに、福祉や雇用などの他の施策との連携を図る。

基本的な
対策3点

- 1.「効果的な治療方法の開発と医療の質の向上」
- 2.「公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築」
- 3.「国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実」

指定難病患者データベースとは？

● 難病と指定難病

難病とは、患者数がとても少なく、まだ根本的な治療法が確立されていない難治性疾患のことです。難病の中で、一定の要件を満たした場合、専門家により検討された結果を受けて、指定難病と定められます。

指定難病は、医療費助成制度の対象になり、患者さんは経済的な支援を受けられます。また、専門医や研究者による研究体制が整えられ、よりよい治療法などの研究が進められるようになります。



難病

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

患者数による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病を幅広く対象とし、調査研究・患者支援を推奨
例：悪性腫瘍は、がん対策基本法において体系的な施策の対象となっている

指定難病

難病の内、以下の要件を全て満たすものを、患者のおかれている状況からみて良質かつ、適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定

- 患者数が本邦において一定の人数*に達しないこと
- 客観的な診断基準(又はそれに準ずるもの)が確立していること

*人口のおおむね千分の一(0.1%)程度に相当する数と厚生労働省令において規定している。

医療費助成の対象



厚生労働省 資料抜粋

● 指定難病患者データベース

平成27年に施行された難病の患者に対する医療等に関する法律(平成26年法律第50号。以下「難病法」という)に基づく難病の患者さんに対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針(平成27年厚生労働省告示第375号)において、国は、「指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等を適切に収集し、指定難病患者データベースを構築すること」としています。

これにより、指定難病患者データベースには、平成27年からの臨床調査個人票(詳細は次のページを参照)に記載されている患者さんの医療情報をデータとして集積しており、今後、難病の克服に向けた研究等に活用されることが期待されます。

このデータベースの情報の利用にあたっては、患者さんの貴重なデータを扱うため、安全性の確保の観点からガイドラインを遵守し、審査会での審査を受ける必要があります。

臨床調査個人票とは？

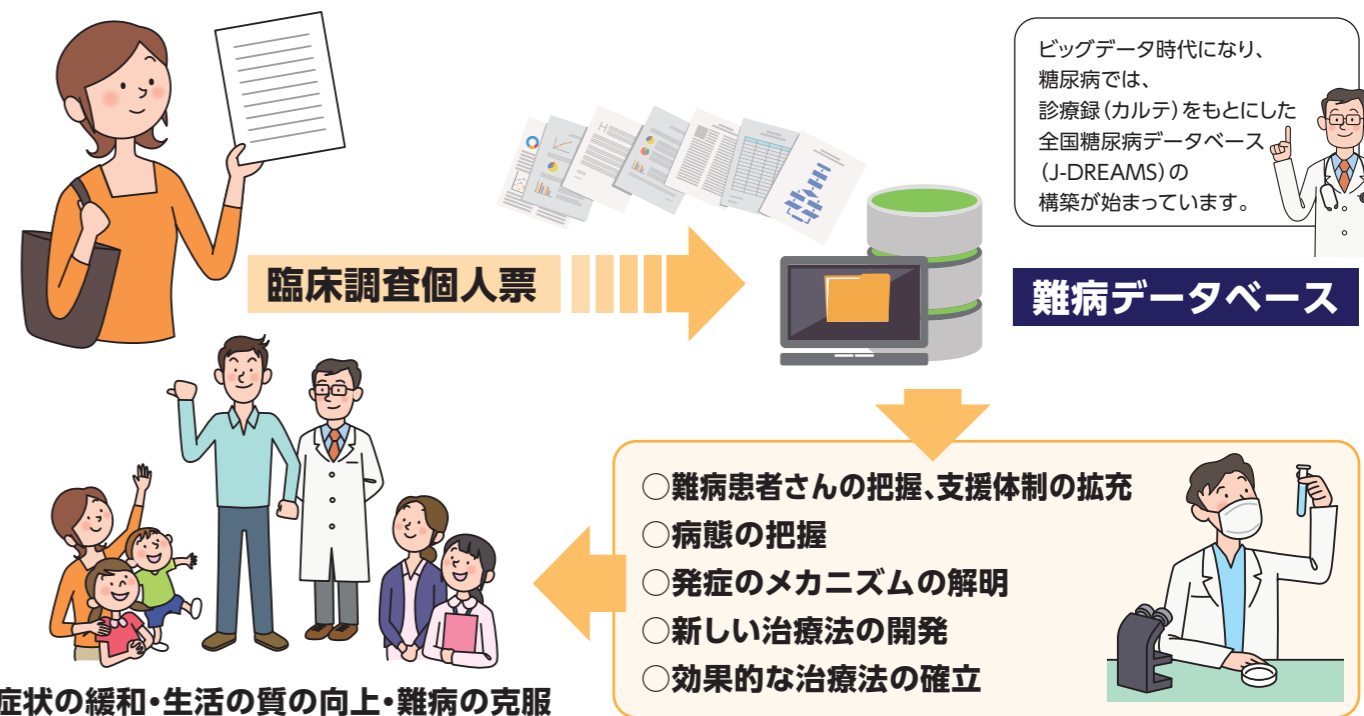
● 難病の研究に欠かせない情報です

臨床調査個人票とは、「難病の患者に対する医療等に関する法律」(難病法)における「診断書」のことです。指定難病ごとに様式があり、難病指定医*が作成します。

臨床調査個人票の臨床データは、「指定難病患者データベース」に登録されています。患者さんのデータは、医学の進歩には欠かせません。特に患者数が少ない難病においては、データベースに登録された情報の一つひとつが研究を進めるにあたり、とても貴重なデータとなります。

病態の把握、発症のメカニズムなどの研究が進むことによって、支援体制の拡充、新しい治療法の開発、効果的な治療法の確立につながります。もちろん最終目標は難病を克服することです。

研究によって得られた成果は、Webサイト難病情報センター(<http://www.nanbyou.or.jp/>)などを通して公開しています。



* 難病指定医とは
難病法に基づき、都道府県知事または指定都市の市長の指定を受けた医師です。
難病医療費助成制度の新規申請においては、難病指定医が臨床調査個人票を作成する必要があり、患者さんが指定難病にかかっていること(診断基準を満たすこと)や、その病状の程度(重症度)を証明する役割があります。

● 難病医療費助成制度の申請に必要です

難病医療費助成制度の申請、更新にあたっては、臨床調査個人票が必要となります。この臨床調査個人票をもとに審査を行い、難病医療費受給の認定・不認定を決定しています。

臨床調査個人票のフォーマットの入手方法

保健所など各都道府県の難病医療費助成制度の申請窓口や、インターネットから入手できます。医療機関によっては、フォーマットを用意している施設もあります。

臨床調査個人票は、必要に応じて改訂が行われています。最新のものを使用する必要があります。

厚生労働省のホームページ 告示番号ごとに掲載しています

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000084783.html>

難病情報センターのホームページ 疾病名を50音順やキーワードで検索できます <http://www.nanbyou.or.jp/>

データベースに登録される 臨床調査個人票の記載項目

臨床調査個人票の記載項目は、指定難病患者データベース(以下、難病データベース)に登録されます。ここでは、どんな記載項目があるのかについて紹介します。

● 臨床調査個人票の項目 (難病データベースに登録される項目)

1. 基本情報

- 告示病名、告示番号
- 性別
- 生活状況
 - ・ 移動の程度
 - ・ 身の回りの管理
 - ・ ふだんの活動
 - ・ 痛み・不快感
 - ・ 不安・ふさぎ込み
- 姓名
- 家族歴
- 住所
- 発症年月
- 生年月日
- 社会保障(介護認定)



・匿名化
・セキュリティ

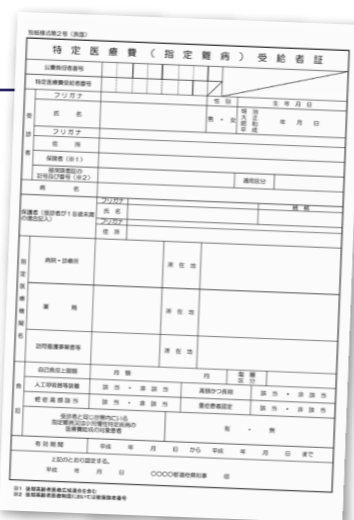
基本情報には、患者さんの氏名、住所など個人情報が含まれています。難病データベースの活用にあたっては、匿名化を行い、個人が特定されないように、細心の注意が払われています。また、情報漏洩を防ぐために高度な情報セキュリティのもとデータが管理されています。

2. 医療費支給審査項目

- ① 診断基準
 - 病型分類
 - 臨床所見
 - 検査所見
 - 遺伝学的検査
 - 鑑別診断
- ② 重症度分類
 - 軽症/中等症/重症
 - 疾患特異的重症度分類
 - 特記事項(自由記載欄)

診断の 카테고리 (判定基準)

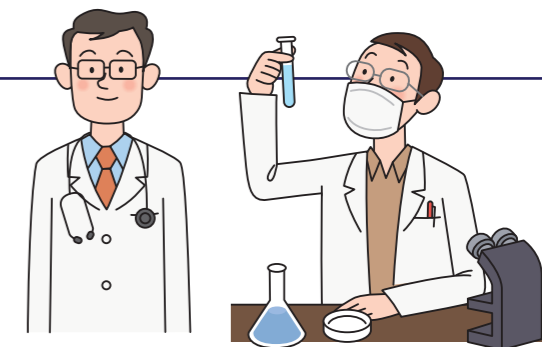
■ 受給者証



難病医療費助成制度において、「指定難病に罹患していること(診断基準)」、「一定の症状があること、日常生活または社会への支障の程度(重症度分類)」を確認するために利用されています。

3. 研究班の調査項目

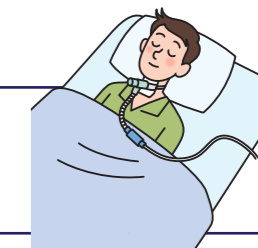
- 臨床所見
- 検査所見
- 発症と経過
- 治療履歴(薬物療法、外科的治療)



厚生労働省の難治性疾患克服研究事業として、原因の究明や治療法の確立などを旨とし、さまざまな研究班が設置されています。他の項目以外に、研究班の調査に必要な項目として、設けられている項目です。

その他の項目 4. 人工呼吸器装着の有無

- 当該指定難病により人工呼吸器を使用している場合のみ記入



その他の項目 5. 医療機関情報

- 指定医番号
- 医療機関電話番号
- 記載年月日

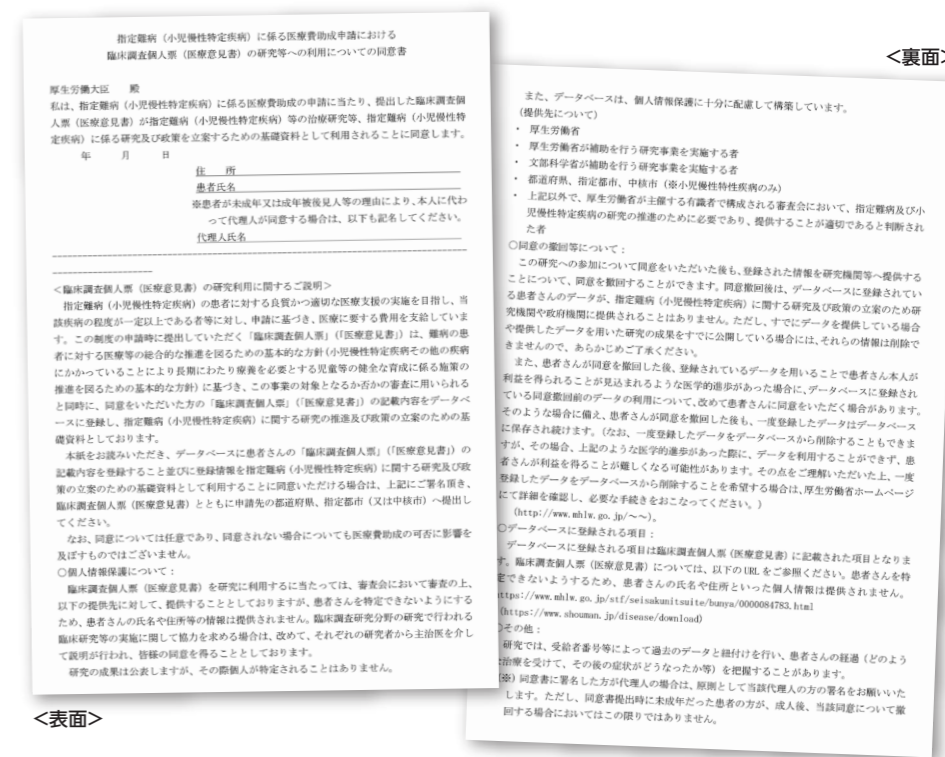
その他の項目 6. 行政欄(都道府県が記載)

- 受給者番号
- 認定/不認定

● 難病データ利用の同意文について

特定医療費(指定難病)支給認定申請書にある患者同意文の範囲内で、データが利用されています。同意文には、厚生労働省の研究事業等の基礎資料として使用される旨が記されています。

■ 特定医療費(指定難病)支給認定申請書の同意文



難病データベースへの登録・利用の流れ

ここでは、臨床調査個人票の難病データベースへの登録から、登録されたデータの利用までの流れについて紹介します。

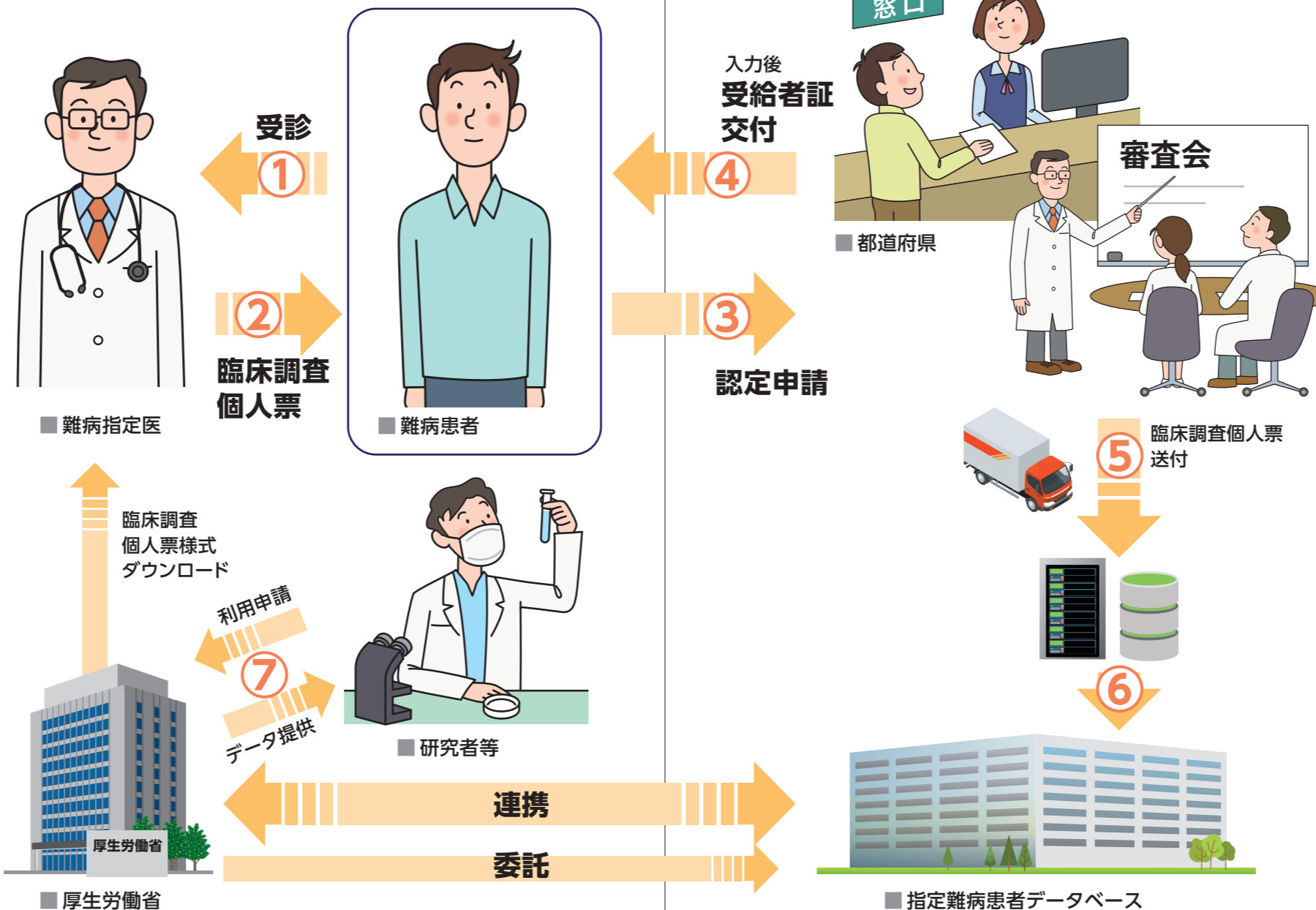
①～④ 臨床調査個人票の作成・提出

指定難病と診断された患者さんは、難病医療費助成制度の申請時に、難病指定医が作成した臨床調査個人票を他の申請書類とともに都道府県の窓口へ提出します。

⑦ 難病データベースの利用

研究者等から難病データベースの利用の申請があった際には、まずは厚生労働省の難病対策課が審査を行います。適切な利用であると判断された場合、厚生労働省から疾病登録センターにデータ提供を依頼します。

疾病登録センターでは、必要なデータを抽出後、個人が識別できないように匿名化し、暗号化などセキュリティを確保した上で、厚生労働省に提供します。厚生労働省から申請元の研究者に安全な方法でデータが渡されます。



⑤ 疾病登録センターに送付

都道府県は、難病医療費助成制度の認定結果の通知が終了した患者さんの臨床調査個人票の複写を順次、疾病登録センターに送付します。疾病登録センターとは、難病データベースの運用環境の構築や運用・保守業務を行うところです。

⑥ 難病データベースへの登録

疾病登録センターにおいて、臨床調査個人票のデータが難病データベースに入力されます。これまでの臨床調査個人票の数は、400万件以上にのぼり、年に120～130万件の申請があります。この膨大な数の臨床調査個人票の入力にあたっては、コンピュータで文字を読み取るOCR機能を使い、効率性を高めています。

また、データベースへの登録は検査値の異常値などデータのエラーをシステムでチェックした後に、データの精度の向上を図っています。

今後のデータ活用の可能性

さらなる難病研究の推進のために、他のデータベースとの連携も検討されています。厚生労働省では、小児慢性特定疾病を対象としたデータベースを構築していますが、登録されている患者さんの中には、成人後に難病医療費助成の支給認定申請を行うことが想定されます。そこで、小児慢性特定疾病のデータベースと難病データベースを連携し患者さんのデータを経年的に蓄積していくことによって、小児期から成人期への移行期医療を円滑に進めるための研究・検討に寄与することが期待されています。

他にもゲノム研究や創薬関連のデータベース、欧米の患者データベースとの連携などが検討されています。臨床調査個人票のデータは、今後の難病治療にとって、さまざまな可能性を秘めた大切な情報だといえるでしょう。



他のデータベースとの連携を行う際には、患者さんの同意を改めて得ることになります。現状では、患者さんの同意なしに連携を行うことはありません。



指定難病患者データベースのQ&A

Q 指定難病患者データベースを構築することになった背景を教えてください

A 平成27年に施行された難病の患者に対する医療等に関する法律(平成26年法律第50号。以下「難病法」という)に基づく難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針(平成27年厚生労働省告示第375号)において、国は、

- ①指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等(以下「指定難病患者データ」という。)を適切に収集し、指定難病患者データに係るデータベース(以下「指定難病患者データベース」という。)を構築すること
- ②指定難病患者データベースの構築及び運用に当たっては、個人情報の保護等に万全を期すこと
- ③医薬品等の開発を含めた難病の研究に有効活用できる体制に整備するとともに、小児慢性特定疾病のデータベースや欧米等の希少疾病データベース等、他のデータベースとの連携について検討することと示されています。

これに基づきデータベースを構築しています。

Q 指定難病患者データベースにはどのようなデータが登録されますか？

A 難病医療費助成制度の申請時提出していただく臨床調査個人票のデータ(詳しくは5、6ページをご参照ください)が登録されます。

これは認定、不認定にかかわらず、データの利用について同意をいただいた患者さんのデータが登録されます。

Q 指定難病患者データベースへの登録はどのようなことに役立ちますか？

A 難病は希少疾病であり患者数が少ないため、研究を行うために必要なデータが集まりにくく、他の疾患に比べて病態の把握、新薬や新しい治療法の開発が難しいという課題があります。指定難病患者データベースへ**1人でも多くの方のデータが登録されることで、これらの課題解決へ繋がります。**データベースに蓄積された情報を適切かつ有効的に活用することで、難病の研究の推進や施策の立案に役立ち、患者さんやそのご家族、そして社会にとって、よりよい難病対策が行われると期待されます。さらに、新しい薬や治療法の開発が進むことで、疾患の克服に繋がる可能性もあります。

Q 自分の登録したデータが研究に役立っていることを確認できますか？

A 指定難病に指定されている疾病には、それぞれ研究班が存在します。研究班のホームページでは、現在行われている研究や進捗状況などについて公表されており、そこで確認することができます。研究班に関する報告書やトピックスは、難病情報センターのホームページからも確認いただけます。

Q 名前や住所など個人が直接特定されうる情報が研究者等へ提供されますか？

A 名前や住所など個人が直接特定されうる情報は、原則、データ提供されません。

しかし、研究の目的*によっては審査会が承認した場合に限り、患者さんの臨床調査個人票に記載した医師がいる**医療機関の情報を提供する場合があります。**

*研究者が医療機関の情報をもとに指定医へアプローチし、指定医を通して患者さんへ調査や研究への協力についてお願いすることを目的としている場合。

Q 指定難病患者データベースへの登録を同意しなければ、医療費助成を受けることができますか？

A 「難病法」による医療費助成の対象になるのは、原則として「指定難病」と診断され、「重症度分類等」に照らして病状の程度が一定程度以上の場合です。そのため、**指定難病患者データベースへの登録の同意の有無に関わらず、医療費助成を受けることは可能です。**

指定難病を知るためのホームページ

難病のあらゆる情報を公開

難病情報センター

<http://www.nanbyou.or.jp/>



各指定難病の解説・診断基準・臨床調査個人票のほか、国の難病対策、各種制度・支援情報、医療提供体制情報、障害福祉サービス、患者会情報、都道府県担当窓口などを掲載しています。また、厚生労働省が実施している難治性疾患克服研究事業に関する情報も公開されています。

難病における雇用対策がわかる

厚生労働省 難病患者の就労支援

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/koyou_roudou/koyou/shougaisakoyou/06e.html



ハローワークにおける職業相談・職業紹介、難病患者就職サポーターなど就労支援に関する情報が公開されています。各種雇用支援策リーフレットなどもダウンロードできます。雇用側である事業者向けの情報も掲載。

希少疾患の国際的な情報を提供

Orphanet Japan

<http://www.orpha.net/national/JP-JA/index/home/>



希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル「Orphanet」の日本版。Orphanetは希少疾患の患者さんの診断、ケアおよび治療の向上への寄与を目的としており、約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営されています。

難病患者・家族の生活に役立つ情報を掲載

難病ドットコム

<http://jpma-nanbyou.com/index.aspx>



難病の一つクローン病の患者さんのみで設立された三雲社が運営するホームページ。各疾患の情報や難病に関するニュースのリンクなど、患者さんの視線で難病や希少疾患、慢性疾患の患者さんとその家族の日々の生活に役立つ情報を掲載しています。

国の難病対策の“いま”がわかる

厚生労働省 難病対策

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/kenkou/nanbyou/index.html



指定難病の一覧(概要、診断基準、臨床調査個人票)、医療費助成制度や難病法にかんする情報が公開されています。また、政令・省令、厚生科学審議会・難病対策委員会における審議内容の報告など、現在の国の難病対策の取り組みがわかります。

最新の難病研究を掲載

難病医学研究財団

<http://www.nanbyou.jp/>



難病情報センターを運営する難病医学研究財団のウェブサイト。同団体が開催する市民公開講座、指定難病に関する臨床試験(治験)の実施されている機関のホームページリンクを掲載しています。または、同団体の助成事業、最新の難病研究がわかります。

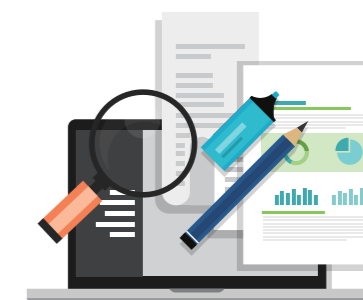
患者・家族会団体のホームページ

一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会

<https://nanbyo.jp/>



難病、長期慢性疾患、小児慢性疾患等の患者団体の中央団体である日本難病・疾病団体協議会(JPA)の公式ホームページ。同団体が開催する難病・慢性疾患全国フォーラムなどのイベント、難病患者サポート事業の情報、加盟する患者会の一覧が掲載されています。



重症度分類について

～現状の整理～

今回の検討にあたっての基本原則

- ① Bartel Indexをすべての疾患に適応するのではなく、あくまで疾患群別重症度基準を当該疾患群に適応させることが可能かの検討を行う
- ② 予後等は考慮せずに、現時点の状態で判断する
- ③ 今回の検討はあくまで今後の重症度基準についての検討に向けた整理であり、最終的には厚生労働省と各政策研究班の代表者と協議して重症度分類を決定する
- ④ 疾患群別の統一基準がその疾患に適応できない場合は、その理由を報告する

神経疾患(82疾患)

mRS/BI、食事摂取、呼吸状態、てんかん・知能障害 +追加 ??

01-09,14,16-26,111,113,117-122,
125-126,128,131-132,135-309
(計61疾患)

現行の診断基準から変更無し

10:シャルコー・マリートウス病
11:重症筋無力症
12:先天性筋無力症候群
13:多発性硬化症/視神経脊髄炎
15:封入体筋炎
27-33
112,114,115,116 (計18疾患)

mRSの適応あり
現行基準+mRS
mRSのみ

123:禿頭と変形性脊髄症を伴う常染色体劣性
白質脳症
124:皮質下梗塞と白質脳症を伴う常染色体優
性脳動脈症

mRSからBIへ変更

内分泌疾患(23疾患)

72:下垂体性ADH分泌異常症前眼部形成異常
73:下垂体性TSH分泌亢進症
74:下垂体性PRL分泌亢進症
75:クッシング病
76:下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症
77:下垂体性成長ホルモン分泌亢進症
78:下垂体前葉機能低下症

共通の重症度分類を導入
することは難しい

191:ウェルナー症候群 195:ヌーナン症候群
193:ブラダーウィリー症候群 276:軟骨無形成症

疾患特異的に重症/中等症/
軽症で分類

80,233,235,236,238,249,265 : ホルモン受容体機
構異常班

81,82,83,232,237: 副腎ホルモン産生異常班

中等症以上を対象とする。
軽症: 無治療で経過観察が可能である。
中等症: 薬物治療無しには疾病特異的症候のため日常生活に支障をきたす。
重症: 以下の項目の何れかに該当する。
1. 薬物治療を行っても疾病特異的症候のため日常生活に支障をきたす。
2. 本疾病に起因する治療の必要な合併症(心臓疾患、呼吸器疾患、肝疾患、腎疾患など)がある。
3. 視力・視野障害、本症以外の視床下部・下垂体機能障害(中枢性尿崩症、渴中枢障害、体温調節障害、中枢性肥満症(BMI>30)、中枢性やせ症(BMI<17.5)、睡眠障害など)を合併する。

腎・泌尿器疾患(14疾患)

内科的疾患背景をもつ下記疾患、

066 IgA腎症
 067 多発性嚢胞腎
 109 非典型溶血性尿毒症症候群
 220 急速進行性糸球体腎炎
 221 抗糸球体基底膜抗体腎炎
 222 一次性ネフローゼ症候群
 223 一次性膜性増殖性糸球体腎炎
 224 紫斑病性腎炎

現在の重症度分類
 CKD分類

218 アルポート症候群
 219 ギャロウェイ・モフト症候群
 287 エプスタイン症候群
 315 ネイルパテラ症候群(爪膝蓋骨症候群)／
 LMX1B 関連腎症)
 225 先天性腎性尿崩症

基本CKD分類
 注釈あり

226 間質性膀胱炎(ハンナ型)

CKD重症度分類の適応は困難

先天異常・遺伝子疾患(26疾患)

小児例 (小児慢性疾病の状態の程度に準ずる)

NYHA分類

(先天性心疾患があり、薬物治療・手術によってもNYHA分類でII度以上に該当する場合)

mRS (いずれかが3以上を対象)

食事・栄養

呼吸

難治性てんかん

主な抗てんかん薬 2～3種類以上の多剤併用で、かつ十分量で、2年以上治療しても、発作が1年以上抑制されず日常生活に支障をきたす状態。

CKD重症度分類ヒートマップ赤の部分の場合

視覚障害 (良好な方の眼の矯正視力が0.3未満)

聴覚障害 (3 高度難聴以上)

精神症状・能力障害二軸評価

成人例については
 1)～○)のいずれかに該当する者を対象とする。

皮膚・結合織疾患(14疾患)

34: 神経線維腫症(錦織班)
 36: 表皮水疱症(天谷班)
 37: 膿疱性乾癬(天谷班)
 159: 色素性乾皮症(錦織班)
 160: 先天性魚鱗癬(天谷班)
 164: 眼皮膚白皮症(天谷班)
 166: 弾性線維性仮性黄色腫(天谷班)

多臓器にわたる疾患であり、
皮膚のみの基準では評価
が困難

35: 天疱瘡(天谷班)
 38: SJS(森田班)
 39: TEN(森田班)
 161: 家族性良性慢性天疱瘡(HDD)(橋本班)
 162: 類天疱瘡(天谷班)
 163: 特発性後天性全身性無干症(横関班)

疾患特異的な基準であり現
行の重症度基準の適応が
よいと考えられる

186: ロスマンド・トムソン症候群

免疫疾患(27疾患)

40: 高安動脈炎
 41: 巨細胞動脈炎
 42: 結節性多発動脈炎
 43: 顕微鏡的多発血管炎
 44: 多発血管炎性肉芽腫症
 45: 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症
 46: 悪性関節リウマチ
 48: 原発性抗リン脂質抗体症候群

modified Rankin Scaleや
Barthel Indexでの評価は
困難

106: クリオピリン関連周期熱症候群
 108: TNF受容体関連周期性症候群
 110: ブラウ症候群
 266: 家族性地中海熱
 267: 高IgD症候群
 268: 中條・西村症候群
 269: 化膿性無菌性関節炎・壊疽性膿皮症・ア
クネ症候群
 325: 遺伝性自己炎症性疾患

modified Rankin Scale
で評価

他、11疾患

検討中

眼科疾患(6疾患)

90:網膜色素変性症
302:レーベル遺伝性視神経症

328:前眼部形成異常
329:無虹彩症

疾患特異的な基準であり
現行の重症度基準の適応
がよいと考えられる

301:黄斑ジストロフィー
134:中隔視神経形成異常症/ドモルシア症候群

良好な方の眼の矯正視力
が0.3未満の者を対象とす
る。

耳鼻咽喉科疾患(10疾患)

181:クルーゾン症候群
182:アペール症候群
183:ファイファー症候群
184:アントレー・ビクスラー症候群
190:鰓耳腎症候群
303:アッシャー症候群
304:若年発症型両側性感音難聴
305:遅発性内リンパ水腫
306:好酸球性副鼻腔炎
330:先天性気管狭窄症/先天性声門下狭窄症例

基本的にはmRSを加えること、
それぞれの重症度分類に必
要な項目を統一すること(例
えば聴覚障害の分類とその
重症度を同じくすること)、
その上で重症度を見直すこと

血液疾患(14疾患)

- 60:再生不良性貧血
- 61:自己免疫性溶血性貧血
- 62:発作性夜間ヘモグロビン尿症
- 63:特発性血小板減少性紫斑病
- 64:血栓性血小板減少性紫斑病
- 65:原発性免疫不全症候群
- 282:先天性赤血球形成異常性貧血
- 283:遅発性内リンパ水腫
- 284:好酸球性副鼻腔炎
- 285:ファンconi貧血
- 286:遺伝性鉄芽球性貧血
- 288:自己免疫性出血病XIII
- 327:特発性血栓症(遺伝性血栓性素因による。)
- 331:キャッスルマン病

(1)血液疾患ではヘモグロビン、白血球、血小板など数値化できるものは既にそのようになっているが、一律に当てはめられない疾患もある。
 (2)もしも今回の重症度基準が厳しくて適応されなくて困っているケースがあるとしたらどんなケースか(あれば是非、お聞かせください)
 (3)これまで身体障害認定も同様の基準を設けてきたので、そちらとの整合性も意識せざるを得ないだろう

	軽度	中等度	重度
ヘモグロビン	10g/dL ~	9g/dL ~	7g/dL ~
網赤血球数	10万/μL ~	6万/μL ~	2万/μL ~
白血球数	3,300/μL ~	2,000/μL ~	1,000/μL ~
好中球	2000/μL ~	1000/μL ~	500/μL ~
リンパ球	1000/μL ~	600/μL ~	300/μL ~
血小板	10万/μL ~	5万/μL ~	2万/μL ~
APTTまたはPT	1.5倍 ~	2倍 ~	3倍 ~
凝固活性	40% ~	5% ~	1% ~

呼吸器疾患(9疾患)

「息切れスケールmMRCと動脈血液ガスの2項目(安静時PaO₂と6分間歩行時最低SpO₂)」を基本とする

- 85:特発性間質性肺炎
- 228:閉塞性細気管支炎
- 229:肺胞蛋白症(自己免疫性又は先天性)

- 87:肺静脈閉塞症・肺毛細血管腫症
- 89:リンパ脈管筋腫症
- 227:オスラー病
- 231:α1-アンチトリプシン欠乏症

- 230:肺胞低換気症候群

- 299:嚢胞性線維症

・mMRC+安静時PaO₂よりもmMRC+労作時最低SpO₂との意見がかなりあった(6分間歩行時最低SpO₂とすると6分間歩行できない最重症の患者さんが困るため労作時最低SpO₂としてある)。
 ※なお、労作時SpO₂の低下はmMRCに反映するので、むしろ安静時PaO₂を重視するという考え方もある。・PaO₂(SpO₂)以外にAaDO₂(空気呼吸下)やPaCO₂の併記も必要。従って、可能ならSpO₂のみでなく一度は(成人は)血ガス測定が望ましい。
 ・肺胞低換気症候群については、夜間の低換気の基準および重症睡眠呼吸障害の有無を追加が必要
 ・症状などに関係なく、すでにこの指定難病で挿管人工呼吸、NPPVや在宅酸素療法中の方は重症と扱うべき。
 ・重症度の中に、治療状況(治療の必要性)を加えてはどうか。
 ・症状のみだと患者や主治医の主観が入る余地があり、客観性がある指標と同等に扱って良いのか疑問。

・肺胞低換気症候群については、夜間の低換気の基準および重症睡眠呼吸障害の有無を追加が必要

循環器疾患(27疾患)

188: 多脾症候群	214: 心室中隔欠損を伴う肺動脈閉鎖症
189: 無脾症候群	215: ファロー四徴症
203: 22q11.2欠失症候群	216: 両大血管右室起始症
207: 総動脈幹遺残症	217: エプスタイン病
208: 修正大血管転位症	311: 先天性三尖弁狭窄症
209: 完全大血管転位症	312: 先天性僧帽弁狭窄症
210: 単心室症	313: 先天性肺静脈狭窄症
211: 左心室低形成症候群	314: 左肺動脈右肺動脈起始症
212: 三尖弁閉鎖症	
213: 心室中隔欠損を伴わない肺動脈閉鎖症	

NYHA分類

57: 特発性拡張型心筋症
58: 肥大型心筋症
59: 拘束型心筋症

NYHA分類+α

281: クレップェル・トレノネー・ウェーバー症候群

mRS+出血スケール

86: 肺動脈性肺高血圧症
88: 慢性血栓性肺高血圧症
167: マルフアン症候群
179: ウィリアムズ症候群

NYHA分類+α

47: バージャー病

疾患特異的基準

その他の疾患群

- 消化器疾患 20疾患
- 形成外科疾患 4疾患
- 代謝疾患 43疾患
- 骨・関節疾患 12疾患

指定難病データベースに関するアンケート結果概要

1. 概要

- ・対象
平成 30 年度難治性疾患政策研究事業研究課題
89 班
- ・回答
79 班（回答率：88.8%）
- ・対象疾患
指定難病：62 班
小児慢性特定疾病：53 班
指定難病＋小児慢性特定疾病：50 班

2. 個別質問

Q1 平成 30 年度の研究計画で、指定難病患者 DB または小児慢性特定疾病患者 DB のデータを活用した研究を予定していますか？

- ・指定難病患者 DB の活用予定あり：39/62 班(62.9%)
- ・小児慢性特定疾病 DB の活用予定あり：10/53 班(18.9%)

Q2 今後、指定難病患者 DB のデータ提供を希望しますか？

- ・希望
あり：57/62 班(91.9%)
なし：5/62 班(8.1%)
- ・「希望あり」の場合の利用目的（複数回答）
疫学調査：52 班
患者実態調査：55 班
治療状況に関する調査：45 班
その他：
研究班データとの比較解析
移行期医療の実態調査
啓発活動での利用
- ・「希望なし」の場合の理由（複数回答）
悉皆性がない：4 班
経年変化がおえない：3 班
必要なデータ項目がない：3 班

- 軽症者のデータがない：2 班
- 信頼性が低い：1 班
- 医療機関名が提供されない：1 班
- 名寄せができない：1 班

Q3 指定難病患者 DB の研究的価値を高めるために必要な要素とは？

内容	班数
経年変化が追えること	16
悉皆性の担保	10
未申請者や軽症者の把握	8
信頼性の担保	7
名寄せ機能	4
データ項目の見直し・簡素化	4
小児慢性との互換性の担保	3
登録者へのアクセス	3
具体的治療内容の記載	2

Q4 今後、小児慢性特定疾病 DB のデータ提供を希望しますか？

・希望

あり：36/53 班(67.5%)

なし：16/53 班(30.2%)

・「希望あり」の場合の利用目的（複数回答）

疫学調査：32 班

患者実態調査：33 班

治療状況に関する調査：26 班

予後調査：23 班

・「希望なし」場合の理由（複数回答）

必要なデータ項目がない：5 班

名寄せができない：4 班

悉皆性がない：2 班

信頼性が低い：2 班

医療機関名が提供されない：1 班

Q5 他の DB との連結について（名寄せについて）

・指定難病 DB—小児慢性 DB

希望有り：54/79(68.4%)

希望無し：22/79(27.8%)

・指定難病 DB/小児慢性 DB-NDB

希望有り：44/79(55.7%)

希望無し：29/79(36.7%)

・指定難病 DB/小児慢性 DB-難病プラットフォーム

希望有り：48/79(60.8%)

希望無し：27/79(34.2%)

解析結果（暫定版）

HAM 患者の臨床検査個人票を対象としたデータ解析進捗報告

概要

HAM 患者の臨床検査個人票を研究目的で活用するにあたり、臨床検査個人票の信頼性の検討が必要である。解析方針を検討するために、臨床検査個人票を対象にデータの整理、解析を進め、臨床検査個人票の整理状況、集計結果を記載し、今後の予定と課題を列挙した。

臨床検査個人票データの状況

データセット①単純取り込み後

データ件数 115 件 うち、新規 57 件 更新 58 件

患者数 69 名 うち、新規 16 件 更新 53 件

- ・ 新規について、0 枚が 21 名、2 枚が 40 名、2 枚が 7 名、3 枚が 1 名
- ・ 更新について、0 枚が 16 名、1 枚が 48 名、2 枚が 5 名
- ・ 新規更新合わせると、1 枚が 36 名、2 枚が 21 名、3 枚が 11 名、4 枚が 1 名
- ・ 新規、更新の組み合わせで見ると、下記の通り
 - 新規のみ更新無しが 16 名、新規があるものが 48 名
 - 新規なし更新のみが 21 名、更新があるものが 53 名

表：臨床検査個人票の新規、更新の枚数整理

	更新合計			合計
	0	1	2	
新規合計 0	0	20	1	21
1	16	20	4	40
2	0	7	0	7
3	0	1	0	1
合計	16	48	5	69

臨床検査個人票の集計とデータクリーニング

検討に際して

- ・ データセット①単純取り込み後を対象に、個人が 1 レコードとなるようデータ構造を作り替え、各年度の新規更新データを作成、そのファイル上で新規合計、更新合計、臨床検査個人票合計、についてケース毎に整理（結果は表：HAM ねっと ID 毎の臨床検査個人票内訳に示した）。

議題：突合・集計に際して

- ・ 年度の切り分け方について
 - 新規・更新を区別すると、更新 2016 年度の臨床検査個人票が 32 枚、区別しなければ、2016 年度の臨床検査個人票が 41 枚で最多であった
 - ◇ データを最大限活かすという観点からは、最新年の臨床検査個人票データに対して集計を行う (n=69)、もしくは、最新年の新規データ (n=48) 最新年の更新データ (n=53) それぞれの集計を行う、というアプローチが良いのではないか。ただし、調査年次が異なることに注意して解釈する必要がある
 - ◇ 今回のレポートでは、最新年の臨床検査個人票 (n=69) を対象に基礎集計を行った。
 - 臨床検査個人票を提出した HAM 患者の全体像を把握することができる
 - 年度が異なるため、解釈には注意を要する
- ・ 同一年度内に複数の新規・更新臨床検査個人票がある場合のデータ処理について
 - 同一年度内に新規の臨床検査個人票が 2 件登録されているケースがある (ID386、2015 年度)
 - 今回のデータには存在しないが、更新も同一年度内に複数発生するケースがある
- ・ 個人内で複数の新規がある場合のデータ処理について
 - 新規として複数の臨床検査個人票があるのは、特に不整合はないか
 - ◇ 途中 1 年分のデータがない場合は、一旦認定を外れて、翌年度に再度新規として登録、という解釈ができる可能性があるが、データ入手、データ抽出の関係で確実な解釈は難しい
 - ◇ 2 年連続で新規として登録されている場合は、どのように解釈出来るかの検討が必要
 - 新規登録時点の重症度、などを評価する場合、新規は一つに確定して解析を行う事が妥当と思われる。その場合、下記いずれの方針が妥当かの検討が必要である
 - ◇ 複数ある新規の臨床検査個人票のうち、最初の登録を評価する
 - 新規に登録を行う患者の症状や重症度を把握できる
 - ただし、その個人にとって最初の新規の臨床検査個人票である事を保証できない
 - ◇ 複数ある新規の臨床検査個人票のうち、最後の登録を評価する
 - 新規の臨床検査個人票がどういう理由で複数出たのかを確認の上検討する
 - 更新の臨床検査個人票しかないケースの解釈について
 - ◇ 通常は新規→更新、という臨床検査個人票の提出になる、今回はデータ抽出の関係で、更新のみが抽出されたケースがある、という理解で解釈を行うものとする

表：HAM ねっと ID 毎の臨床検査個人票内訳

回答者	新規2014	更新2014	新規2015	更新2015	新規2016	更新2016	新規2017	更新2017	新規合計	更新合計	臨個票合計
9					1			1	1	1	2
17						1			0	1	1
21	1					1		1	1	2	3
26	1								1	0	1
37					1				1	0	1
49	1			1		1			1	2	3
55						1			0	1	1
78			1	1		1			1	2	3
106			1			1			1	1	2
130							1		0	1	1
159						1			0	1	1
161			1			1			1	1	2
163				1		1			0	2	2
170			1			1			1	1	2
177						1			0	1	1
184	1		1			1			2	1	3
186	1		1			1			2	1	3
194			1			1			1	1	2
200	1								1	0	1
234			1			1			1	1	2
236			1						1	0	1
242	1								1	0	1
246						1			0	1	1
255	1		1			1			2	1	3
278			1			1			1	1	2
284						1			0	1	1
314						1			0	1	1
327	1		1			1			2	1	3
329					1			1	1	1	2
330							1		0	1	1
343	1					1			1	1	2
345			1			1			1	1	2
359	1			1					1	1	2
362							1		0	1	1
366						1			0	1	1
384			1			1			1	1	2
386	1		2			1			3	1	4
399			1						1	0	1
402			1						1	0	1
405					1				1	0	1
406			1						1	0	1
417	1		1			1			2	1	3
420							1		1	0	1
422								1	0	1	1
426	1		1			1			2	1	3
427								1	0	1	1
432			1						1	0	1
434					1			1	1	1	2
438						1			0	1	1
439			1			1			1	1	2
445	1		1			1			2	1	3
447						1			0	1	1
456			1			1			1	1	2
457			1			1			1	1	2
458			1			1			1	1	2
461			1					1	1	1	2
466			1						1	0	1
473						1			0	1	1
475			1						1	0	1
484			1			1		1	1	2	3
496					1				1	0	1
499					1				1	0	1
500								1	0	1	1
505								1	0	1	1
509					1			1	1	1	2
523						1			0	1	1
527					1				1	0	1
543								1	0	1	1
562	1					1			1	1	2
合計	16	0	31	4	9	39	1	15	57	58	115

※1 件を赤く塗り、2 件以上ある場合を緑で塗った。

臨床検査個人票の集計・分析結果

HAM 患者 69 名の臨床検査個人票を対象に集計・分析を行った。

n=69 を対象としたデータ集計結果

・ユニークな個人として 69 名を抽出し、その最新データの基本集計を行った。

集計対象は、新規 16 件、更新 53 件

設問によっては、新規のみでデータが取得されている項目があった。

■行政記載欄の判定結果

69 名中 1 名が不認定 (ID466 新規)。不認定ではあるが各データは登録されている。不認定であるケースを除外せずに解析対象に含めて解析を行った。

■基本情報

□ 基本属性

- 性別 男性 14 名(20.6%)、女性 54 名(79.4%)
- 平均年齢 63.55±10.82 歳、年齢中央値 65 歳、最小値 31 歳 最大値 85 歳
 - ◇ 年齢は、記載年月時点の年齢を算出した。
- 家族歴 (n=13) ※新規のみ あり 1 名(7.7%)、 発症者続柄 母
- 発症年齢 平均 49.59±13.03 歳、中央値 50.5 歳、最小値 18 歳 最大値 76 歳
 - ◇ 発症年はわかるが月がわからない場合は、6 月と仮定して算出した
 - 発症月について、97 レコード中 64 件が不明、2 件が欠損。
 - 最大限データを活かす観点から、発症年がわかる場合にはデータ集計に取り入れた
- 罹病期間 平均 14.00±9.96 年、中央値 12 年、最小値 1 年 最大値 41 年
- 社会保障 介護認定 (n=13) ※新規のみ
 - ◇ 要介護 4 名(30.8%) (要介護 2、3 が 1 名ずつ、要介護 4 が 2 名)
 - ◇ 要支援 2 名(15.4%) (要支援 1 が 1 名、要支援 2 が 1 名)、
 - ◇ なし 7 名(53.8%)
 - 介護認定の変数と要介護度の変数を組み合わせ、内訳を出した
 - 要支援についても要介護度の数値があり、それを活かして「要支援 1」「要支援 2」と解釈して集計を行った

□ 生活状況 ※新規のみ

	移動の程度		身の回りの管理		ふだんの活動		痛み／不快感		不安／ふさぎ込み	
	n	%	n	%	n	%	n	%	n	%
問題なし			2	2.9			3	4.3	3	4.3
いくらか問題/中程度	11	15.9	10	14.5	11	15.9	7	10.1	9	13.0
問題あり	2	2.9	1	1.4	2	2.9	3	4.3	1	1.4
合計	13	18.8	13	18.8	13	18.8	13	18.8	13	18.8

※選択肢は設問毎により表現が事なる

- 生活状況の項目を EQ-5D-3L と見なし、HRQOL スコアを、下記文献に基づき算出した。
 - ◇ 日本語版 EuroQol の開発 日本語版 EuroQol 開発委員会、医療と社会 vol.8 no.1, 1998
https://www.jstage.jst.go.jp/article/iken1991/8/1/8_109/_pdf/-char/ja
- 算出可能な対象は 13 名、スコア平均は 0.34 ± 0.34 、中央値 0.52
 - ◇ 上記論文より「持続期間 10 年では負の値となる健康状態がいくつかあるが、これは一般市民がそのような見通しを死よりもひどいと考えていることを表す」

表 HRQOL スコア基本統計量

度数	有効数	13
	欠損値	56
平均値		0.3448462
中央値		0.5160000
標準偏差		0.3436684
最小値		-0.4290
最大値		0.7100

表 HRQOL スコア 度数分布

	度数	パーセント	有効パーセント	累積パーセント
有効数	- .4290	1	1.4	7.7
	- .0740	1	1.4	15.4
	.0020	1	1.4	23.1
	.1590	1	1.4	30.8
	.2050	1	1.4	38.5
	.5160	4	5.8	69.2
	.5870	1	1.4	76.9
	.6200	1	1.4	84.6
	.6390	1	1.4	92.3
	.7100	1	1.4	100.0
合計		13	18.8	100.0
欠損値		56	81.2	
合計		69	100.0	

■主要所見

□ 脳神経

- 視力障害 あり（両側）4名(5.8%)、あり（部位不明）1名(1.4%)
- 複視 あり0名(0%)
- 構音障害 あり1名(1.4%)
- 嚥下障害 あり1名(1.5%)
- 難治性吃音 あり0名

□ 反射

- 腱反射更新 あり67名(97.1%)
 - ◇ うち、あり(左右差あり)3名(4.3%)、あり(左右差なし)58名(84.1%)、あり(左右差不明)6名(8.7%)
- 病的反射 あり64名(92.8%)
 - ◇ うち、あり(左右差あり)2名(2.9%)、あり(左右差なし)56名(81.2%)、あり(左右差不明)6名(8.7%)

□ 運動系

- 運動麻痺（※新規のみ） あり12名(100.0%)
- 全身けいれん あり0名(0%)
- 有痛性強直性攣縮 あり12名(17.4%)
- 両下肢の痙性麻痺（※新規のみ） あり12名(92.3%)

□ 自律神経系

- 膀胱障害 あり66名(95.7%)
- 直腸障害 あり58名(84.1%)
- 下半身の発汗障害 あり20名(37.0%)
- インポテンツ あり5名(50.5%) ※男性対象

□ 歩行、姿勢、協調運動

- 小脳性運動失調 あり2名(2.9%)

□ 感覚

- 感覚鈍麻 あり49名(71.0%)
 - ◇ うち、あり(左右差あり)2名(2.9%)、あり(左右差なし)30名(43.5%)、あり(左右差不明)17名(24.6%)
- しびれ感 あり53名(76.8%)

□ 認知機能

- 精神症状 あり0名(0%)

□ 合併症

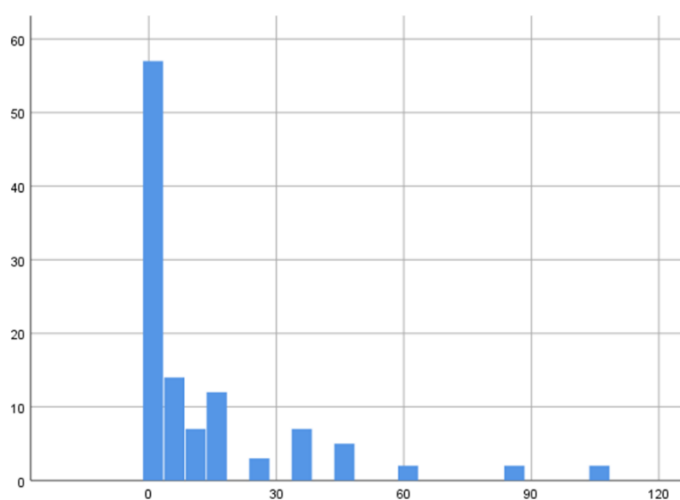
- ぶどう膜炎 あり8名(11.8%)
- 肺病変 あり4名(5.9%)
- 褥瘡 あり3名(4.3%)
- 圧迫骨折 あり2名(3.1%)

- その他 あり 12名(17.9%) (※疾患名はデータなし)

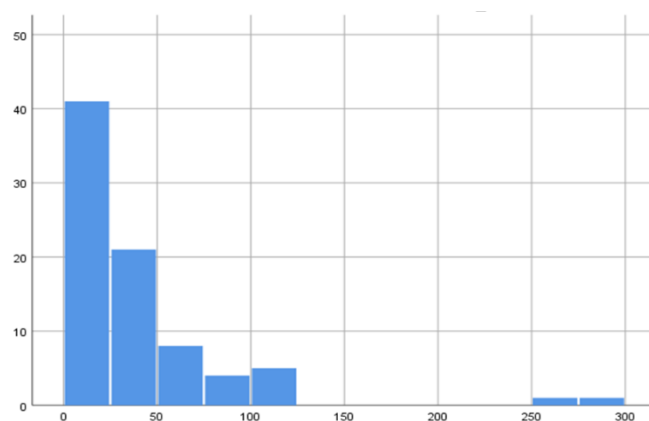
■検査所見

- ・ 【データクリーニング】血液検査日、髄液検査日についての解析に際して、記載日と大きく乖離しているケースが散見されたため報告する。
 - 血液検査日のわかる 111 件を対象にすると、1年以上前が約 3割、4年以上前が約 10%
 - 髄液検査日のわかる 81 件を対象にすると、1年以上前が 65%、4年以上前が 36%、20年以上前が 2件

図：記載日と血液検査実施日の差（横軸単位は月）



図：記載日と髄液検査日の差（横軸単位は月）



臨床検査個人票の検査値の記載は、HAM と診断した当時の検査数値を記載していると考えられる。特に、髄液検査は頻繁に行われる検査ではないため、記載日との乖離が大きいことに留意が必要である。検査日と記載日の差が大きい場合の解釈は慎重に行いつつも、髄液検査結果の数値が得られること、検査数値の変動特性を踏まえて解釈することでデータを活用できると考えられる。

□ 血液検査 (n=115)

- 検査年月日 2007/10/03～2017/07/20 で分布
- 抗 HTLV-1 抗体 (※新規のみ) 陽性 38 件(97.4%)、未検査 1 件 (2.6%)
- 明らかな外れ値の場合は、単位変換を考慮しつつ、個別に除外・採用を判断する

表：血液検査基本統計量 (n=115)

		血液検査_ウイル ス量	血液検査_白血球	血液検査_リンパ 球	血液検査_異常リ ンパ球	血液検査_可溶性 IL-2 受容体
度数	有効	66	106	104	92	81
	欠損値	49	9	11	23	34
平均値		307.94	264.24	6024.36	27.72	0.25
標準偏差		1531.48	1412.63	2236.35	10.50	0.71
最小値		0.11	0.11	4.10	5.50	0.0
最大値		8192.0	8192.0	12900.0	60.0	5.0
パーセン	25	3.1	4500.0	18.8	0.0	345.0
タイル	50	4.5	5900.0	28.5	0.0	521.0
	75	12.3	7500.0	35.5	0.0	810.5

□ 髄液検査検査 (n=115)

- 検査年月日 1995/01/27～2017/06/08 で分布
- 髄液検査 実施 82 件(75.9%) 未実施 26 件(24.1%)
- 髄液検査 抗 HTLV-1 抗体 (※新規のみ) 陽性 35 件(92.1%) 陰性 2 件(5.3%) 未検査 1 件 (2.6%)
- 髄液検査 Oligoclonal IgG Band (※新規のみ) 実施 6 件(16.2%) 未実施 30 件(81.1%) 不明 1 件(2.7%)
- 明らかな外れ値の場合は、単位変換を考慮しつつ、個別に除外・採用を判断する

表：髄液検査基本統計量 (n=115)

		髄液検査_タンパク質	髄液検査_細胞数	髄液検査_IgG index
度数	有効	79	78	39
	欠損値	36	37	76
平均値		44.92	42.47	18.15
標準偏差		32.53	29.76	80.96
最小値		15.0	15.00	0.00
最大値		170.0	170.00	713.00
パーセン	25	27.20	1.00	0.57
ル	50	35.00	4.00	0.72
	75	45.00	9.25	0.94

■鑑別診断

□ 鑑別診断（※新規のみ） 12名が9つの疾患全部の鑑別を、1名が亜急性連合性脊髄変性症以外の8つの疾患の鑑別がされていた。

➤ 鑑別できるものにチェック、の選択肢は下記の通り

- 1.遺伝性痙性脊髄麻痺 2.他の脊髄炎 3.圧迫性脊髄障害 4.脊髄腫瘍 5.多発性硬化症
6.視神経脊髄炎 7.亜急性連合性脊髄変性症 8.脊髄小脳変性症 9.スモン

■発症と経過

□ 初発症状（※新規のみ）

- 排尿障害 6名(46.2%)
➤ しびれ感 4名(30.8%)
➤ 感覚鈍麻 6名(46.2%)
➤ 歩行障害 12名(92.3%)

□ 初発症状組み合わせ

➤ 右表に示した。

◇ 例えば、歩行障害、感覚鈍麻、排尿障害、しびれ感全てがあったものは2名

歩行障害	感覚鈍麻	排尿障害	しびれ感		合計
			1.あり	2.なし	
1.あり	1.あり	1.あり	2	2	4
		2.なし	1	1	2
	2.なし	1.あり	1	0	1
		2.なし	0	5	5
2.なし	2.なし	1.あり		1	1

■重症度

□ Barthel Index

➤ 【データクリーニング】得点算出について、各項目と合計得点の整合性を確認した。

◇ 合計得点の計算が未実施（94-54=40レコード）

◇ 合計得点の計算に誤り（54レコード中、3レコード）

● 算出ミスもしくは入力ミスが2件（5点合わない）

● 欠測項目があるが合計得点が記載されているデータ1件

◇ 集計に際しては、各項目から Barthel Index 得点を算出して用いた。

➤ 各項目の分布を表に示した

➤ 合計得点分布を確認した

➤ Barthel Index 合計得点が85点以下であるものは63名(94.0%)、86点以上は4名(6.0%)であった。

表：Barthel Index 各項目の回答分布

Barthel Index		n	%
食事	1. 自立、自助具などの装着可、標準的時間内に食べ終える (10 点)	56	82.4
	2. 部分介助 (たとえば、おかずを切って細かくしてもらう) (5 点)	11	16.2
	3. 全介助 (0 点)	1	1.5
車椅子からベッドへの移動	1. 自立、ブレーキ、フットレストの操作も含む (歩行自立も含む) (15 点)	21	30.9
	2. 軽度の部分介助または監視を要する (10 点)	34	50.0
	3. 座ることは可能であるがほぼ全介助 (5 点)	8	11.8
	4. 全介助または不可能 (0 点)	5	7.4
整容	1. 自立 (洗面、整髪、歯磨き、ひげ剃り) (5 点)	49	72.1
	2. 部分介助または不可能 (0 点)	19	27.9
トイレ動作	1. 自立 (衣服の操作、後始末を含む、ポータブル便器などを使用している場合はその洗浄)	25	37.3
	2. 部分介助、体を支える、衣服、後始末に介助を要する (5 点)	36	53.7
	3. 全介助または不可能 (0 点)	6	9.0
入浴	1. 自立 (5 点)	8	11.8
	2. 部分介助または不可能 (0 点)	60	88.2
歩行	1. 45m 以上の歩行、補装具 (車椅子、歩行器は除く) の使用の有無は問わず (15 点)	10	14.7
	2. 45m 以上の介助歩行、歩行器の使用を含む (10 点)	31	45.6
	3. 歩行不能の場合、車椅子にて 45m 以上の操作可能 (5 点)	16	23.5
	4. 上記以外 (0 点)	11	16.2
階段昇降	1. 自立、手すりなどの使用の有無は問わない (10 点)	5	7.4
	2. 介助または監視を要する (5 点)	33	48.5
	3. 不能 (0 点)	30	44.1
着替え	1. 自立、靴、ファスナー、装具の着脱を含む (10 点)	20	29.4
	2. 部分介助、標準的な時間内、半分以上は自分で行える (5 点)	39	57.4
	3. 上記以外 (0 点)	9	13.2
排便コントロール	1. 失禁なし、浣腸、坐薬の取り扱いも可能 (10 点)	17	25.0
	2. ときに失禁あり、浣腸、坐薬の取り扱いに介助を要する者も含む (5 点)	45	66.2
	3. 上記以外 (0 点)	6	8.8
排尿コントロール	1. 失禁なし、収尿器の取り扱いも可能 (10 点)	9	13.2
	2. ときに失禁あり、収尿器の取り扱いに介助を要する者も含む (5 点)	43	63.2
	3. 上記以外 (0 点)	16	23.5

表：Barthel Index 合計得点分布

		度数	パーセント	有効%	累積%
有効	0	1	1.4	1.5	1.5
	10	1	1.4	1.5	3.0
	20	3	4.3	4.5	7.5
	25	3	4.3	4.5	11.9
	30	1	1.4	1.5	13.4
	35	2	2.9	3.0	16.4
	40	2	2.9	3.0	19.4
	45	5	7.2	7.5	26.9
	50	8	11.6	11.9	38.8
	55	4	5.8	6.0	44.8
	60	11	15.9	16.4	61.2
	65	5	7.2	7.5	68.7
	70	8	11.6	11.9	80.6
	75	3	4.3	4.5	85.1
	80	3	4.3	4.5	89.6
	85	3	4.3	4.5	94.0
	90	2	2.9	3.0	97.0
	95	1	1.4	1.5	98.5
	100	1	1.4	1.5	100.0
	合計	67	97.1	100.0	
欠損値	システム欠損値	2	2.9		
合計		69	100.0		

□ 運動障害重症度

➤ Osame

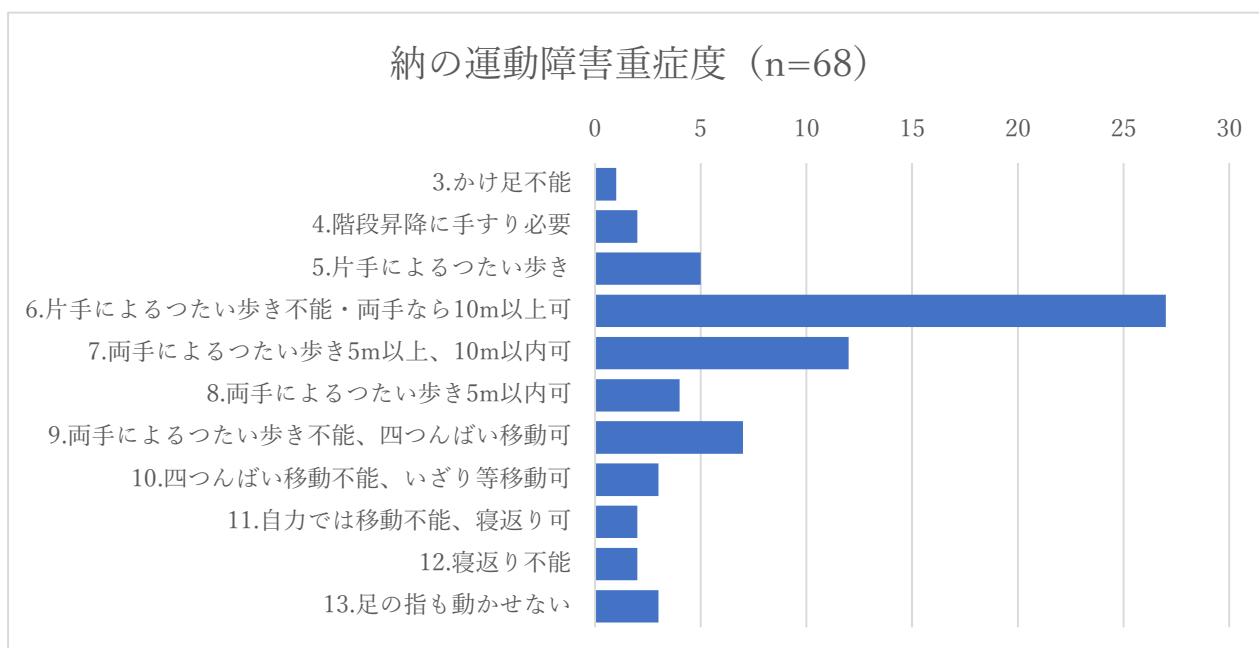
- ◇ OMDS6 が最頻値であり、27 名(39.7%)
- ◇ OMDS5 以上が 65 名 (95.6%)、4 以下は 3 名 (4.4%)
- ◇ 度数分布とグラフを次ページに示す

□ 重症度分類

- Barthel Index が 85 点以下又は OMDS で Grade5 以上が認定基準となっているため、確認した。
 - ◇ 基準を満たすもの (85 点以下、または OMDS5 以上) は 67 名中 66 名
 - ◇ 基準を満たさない 1 名は認定されている (OMDS3、Barthel Index90 点)。
 - 認定理由は「軽症高額」

表：納の運動障害重症度

		度数	パーセン ト	有効パー セント	累積パー セント
有効	3. かけ足不能	1	1.4	1.5	1.5
	4. 階段昇降に手すり必要	2	2.9	2.9	4.4
	5. 片手によるつたい歩き	5	7.2	7.4	11.8
	6. 片手によるつたい歩き不能・両手なら 10m 以上可	27	39.1	39.7	51.5
	7. 両手によるつたい歩き 5m 以上、10m 以内 可	12	17.4	17.6	69.1
	8. 両手によるつたい歩き 5m 以内可	4	5.8	5.9	75.0
	9. 両手によるつたい歩き不能、四つんばい 移動可	7	10.1	10.3	85.3
	10. 四つんばい移動不能、いざり等移動可	3	4.3	4.4	89.7
	11. 自力では移動不能、寝返り可	2	2.9	2.9	92.6
	12. 寝返り不能	2	2.9	2.9	95.6
	13. 足の指も動かせない	3	4.3	4.4	100.0
	合計	68	98.6	100.0	
	欠損値	システム欠損値	1	1.4	
合計		69	100.0		



■治療その他

□ インターフェロンα

- 投与あり 3名(4.4%)
 - ◇ 投与回数には1名は48回、2名は不明
- 治療効果、3名とも「不変」

□ 副腎皮質ステロイド

- パルス療法
 - ◇ あり 9名(13.4%)
 - ◇ 治療効果は、改善8名(80.0%)、不変1名(10.0%)
- 経口投与
 - ◇ あり 35名(51.5%)
 - ◇ ありの場合の種類 セレスタミン1名(1.4%) プレドニゾロン24名(34.8%) プレドニソン6名(8.7%)
 - ◇ 最大投与量 (mg) 平均 6.5±3.4、中央値5、最小値2.5、最大値15
 - セレスタミンは1.5625倍、メドロールの場合は1.25倍で換算した
 - 最大投与量単位に関するデータがないため、最大投与量の日あたり換算はできない事に注意して解釈する必要がある
 - ◇ 治療効果 改善13名(39.4%) 不変18名(54.5%) 不明2名(6.1%)

表：副腎皮質ステロイド_経口投与の最大投与量 (mg)

		度数	パーセント	有効パーセント	累積パーセント
有効	2.50	2	2.9	7.4	7.4
	3.00	3	4.3	11.1	18.5
	3.50	1	1.4	3.7	22.2
	5.00	9	13.0	33.3	55.6
	6.00	2	2.9	7.4	63.0
	6.25	1	1.4	3.7	66.7
	7.00	1	1.4	3.7	70.4
	9.00	2	2.9	7.4	77.8
	10.00	4	5.8	14.8	92.6
	15.00	2	2.9	7.4	100.0
	合計	27	39.1	100.0	
欠損値	システム欠損値	42	60.9		
合計		69	100.0		

□ 免疫抑制剤

- あり 5名(7.6%)
- 薬剤名(自由記載)と最大投与量、治療効果の組み合わせ
 - ◇ グラセプター 1mg 不変
 - ◇ グラセプター, セルセプト 1000mg/ (※最大投与量、治療効果データは欠損)
 - ◇ ネオール (腎移植後のため) 100mg 不変
 - ◇ プレドニゾロン 9mg 不変
 - ◇ プログラフ 1.5mg 改善

□ 血液浄化療法

- あり 0名(0%)

□ その他の薬剤

- その他の薬剤は記載欄が2つある。結果を確認するにあたり、薬剤1、薬剤2をわけて表記した。
- 薬剤1 あり 16名(24.2%)
- 薬剤名+投与量の組み合わせと、治療効果の組み合わせを下記に示す。投与量が不明の場合もある。薬剤名が不明だが効果を報告されているデータが2件あった。

表 その他の薬剤_薬剤1の薬剤名+投与量とその治療効果の関連

	@12700 その他の薬剤_薬剤1_治療効果			合計
	1. 改善	2. 不変	4. 不明	
@12400@12500	1	0	1	2
その他の薬剤_ エリスロシン 200mg	1	0	0	1
薬剤1 ギャバロン	1	0	0	1
薬剤名+投与量 ギャバロン 15mg	0	1	0	1
サラゾピリン 250mg	1	0	0	1
ダントリウム 100mg	0	1	0	1
ビタミンC 600mg	0	1	0	1
ミオナール	0	1	0	1
モガムリズマブ	1	0	0	1
リオレサール 10mg	1	1	0	2
リオレサール 15mg	2	0	0	2
合計	8	5	1	14

- 薬剤 2 あり 7 名(12.5%)
- 薬剤名+投与量の組み合わせと、治療効果の組み合わせを同様に下記に示した。

表 その他の薬剤_薬剤 2 の薬剤名+投与量とその治療効果の関連

	@13200 その他の薬剤_薬剤 2_治療効果			合計	
	1. 改善	2. 不変	4. 不明		
@12900@13000	0	0	1	1	
その他の薬剤_ 薬剤 2 薬剤名+投与量	ウブレチド, エブラニケル 1.5mg サラゾピリン セレコックス 200mg デスモプレッシン .01mg ハイシー 750mg メチコパール 1.5mg	1 0 1 1 0 1	0 1 0 0 1 1	0 0 0 0 0 0	1 1 1 1 1 2
合計	4	3	1	8	

■人工呼吸器（使用者のみ詳細記入）

□ 集計結果は下記の通り。

- 記載のあった患者を精査したところ、人工呼吸器を利用している患者は 0 名
- 質問項目が「Barthel Index」の質問項目と酷似しているため、記載されたと考えられる

表：人工呼吸器（ただし、人工呼吸器利用患者は 0 名）

設問	選択肢	n	%
食事	自立	4	66.7
	部分介助	2	33.3
車椅子とベッド間の移動 n=5	自立	1	20.0
	軽度介助	2	40.0
	部分介助	1	20.0
	全介助	1	20.0
整容 n=6	自立	2	33.3
	部分介助/ 不可能	4	66.7
トイレ動作 n=6	自立	2	33.3
	部分介助	3	50.0
	全介助	1	16.7
入浴	自立	1	16.7

n=6	部分介助/ 不可能	5	83.3
歩行	軽度介助	3	50.0
n=6	部分介助	2	33.3
	全介助	1	16.7
階段昇降	部分介助	3	50.0
n=6	不能	3	50.0
着替え	自立	3	50.0
n=6	部分介助	3	50.0
排便コントロール	自立	3	50.0
n=6	部分介助	2	33.3
	全介助	1	16.7
排尿コントロール	自立	1	16.7
n=6	部分介助	3	50.0
	全介助	2	33.3

HAM ねっとデータの基本集計

HAM ねっとデータを用いて、OMDS5 以上である HAM 患者を抽出し、臨床検査個人票と直接比較出来る項目についての基本集計結果を示し、その結果と比較することで臨床検査個人票を提出している HAM 患者の位置づけを検討することを予定している。

HAM ねっとデータの基本特性 探索的検討

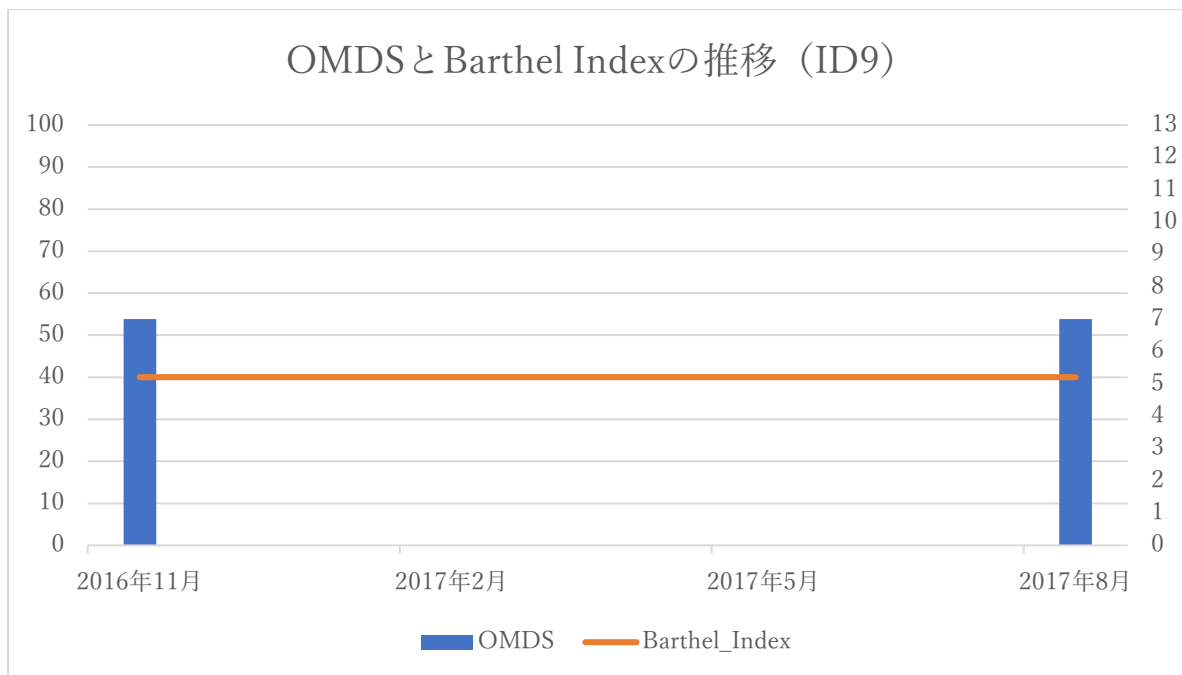
分析対象となる患者が 527 名、うち OMDS が 5 以上である患者が 394 名。394 名の基本属性を示す。
例)

- ・ 性別 男性 89 名(22.6%) 女性 305 名(77.4%) (臨床検査個人票 男性 14 名(20.6%)、女性 54 名(79.4%))
- ・ 合併症 ぶどう膜炎 28 名(7.1%) (臨床検査個人票 あり 8 名(11.8%))
- ・ 年齢 平均 63.42 標準偏差 10.34 (臨床検査個人票 平均年齢 63.55±10.82 歳)
- ・ 発症年齢 44.50 標準偏差 15.14 (臨床検査個人票 平均 49.59±13.03 歳)
- ・ 罹病期間 18.86 標準偏差 11.68 (臨床検査個人票 平均 14.00±9.96 年)

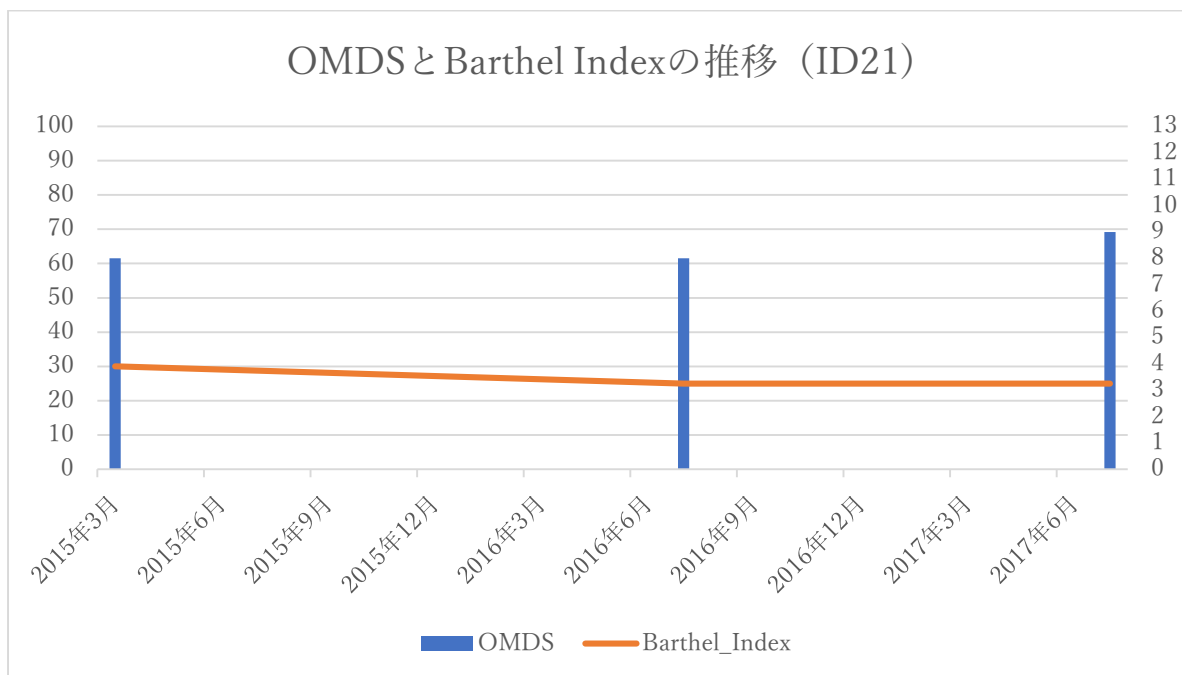
臨床検査個人票の分析方針検討のために_①個人の推移

臨床検査個人票が複数提出されているケースを対象に、グラフ描画により推移の把握を試みた。OMDSと Barthel Index を描画対象とした。

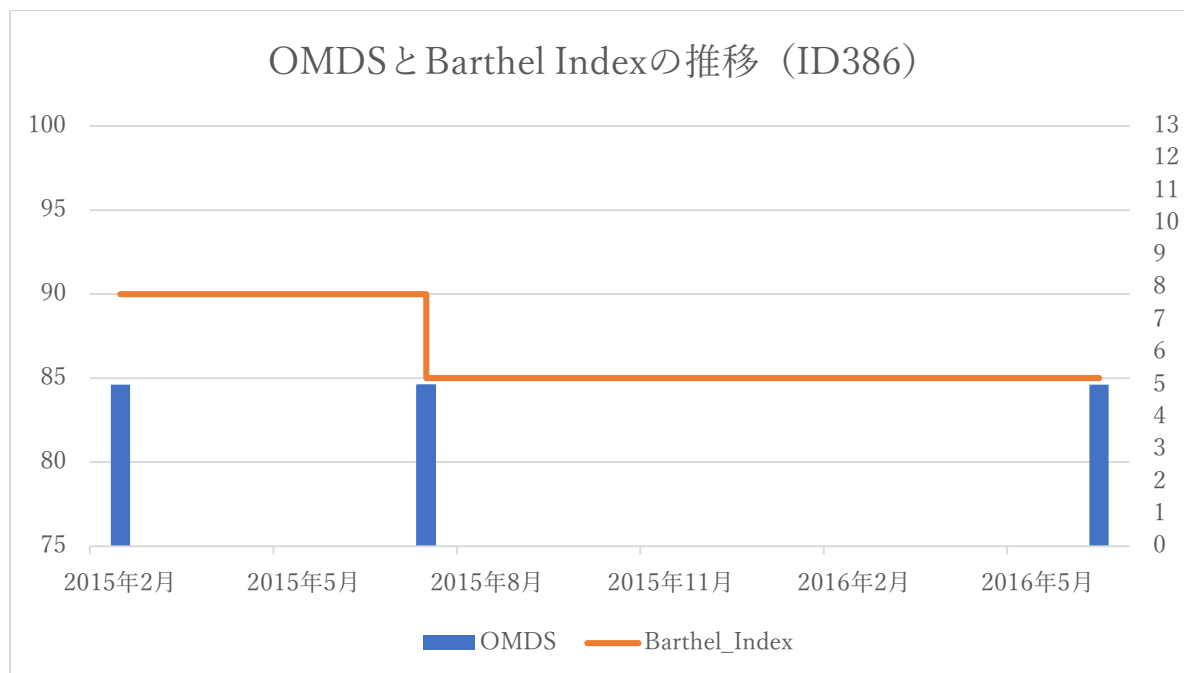
1. 2 地点のデータがある場合



2. 3 地点のデータがある場合



3. 4地点のデータがある場合



※ID386 は、新規が3回提出、うち2015年度は2回新規が提出されていたことを把握した。この結果を元にデータを精査することで、2015年の新規は更新であることが判明し、データクリーニングに活かすことができた。

臨床検査個人票の分析方針検討のために_②Barthel Index と OMDS との関連

Barthel Index と、OMDS の関連を検討した。検討に際しては全データ (n=115) を対象とした。

1. 基本統計量

OMDS 有効回答 114 平均 6.99、標準偏差 2.12

Barthel Index 有効回答 112 平均 59.78 標準偏差 20.9

2. 相関係数

相関係数 $r=-0.75$ ($p<0.001$), $\rho=-0.746$ ($p<0.001$)

3. OMDS と Barthel Index 得点のクロス集計

	Barthel_Index																			合計
	0	10	20	25	30	35	40	45	50	55	60	65	70	75	80	85	90	95	100	
OMDS 3																2	2			4
4													1			1				2
5											3			1	3	2	2	2		13
6						1		2	1	3	8	5	9	5	2	3	2		1	42
7			1		1	1	2	1	5		4	1	1					2		19
8				1	1				3	1	1									7
9				1			2		4	3	2									12
10							1	1			2									4
11				1		1				1										3
12			1	1																2
13	1	2	1																	4
合計	1	2	3	4	2	3	5	7	12	7	19	6	11	6	5	8	6	4	1	112

臨床検査個人票の分析方針検討のために_③HAM ねっとデータの連結

- ・ HAM ねっとは、原則 1 年おきに 1 度調査を実施している。そのため、同一年度に複数の臨床検査個人票がある場合は、いずれか一つを選んで突合対象とする方針である。
- ・ 突合のイメージとして、下記に 6 ケース分のデータを示す。

表：HAM ねっとデータと臨床検査個人票データとの連結イメージ

回答者	調査日_	調査日_	調査日_	調査日_	調査日_	調査日_	新規	新規	更新	新規	更新	更新
	基本調査	基本調査	基本調査	基本調査	基本調査	基本調査						
	_1st	_2nd	_3rd	_4th	_5th	_6th	2014	2015	2015	2016	2016	2017
9	2012/04/10	12-JUN-13	06-JUN-14	19-JUN-15	07-MAY-16	25-MAY-17				1		1
17	2012/05/15	30-MAY-13	20-OCT-14	25-JUN-15	14-APR-16	13-APR-17					1	
21	2012/04/20	31-MAY-13	30-MAY-14	19-JUN-15	29-JUN-16	12-MAY-17	1				1	1
26	2012/04/24	18-JUN-13	11-JUN-14	08-JUN-15	09-MAY-16	18-MAY-17	1					
37	2012/07/10	02-SEP-13	08-AUG-14	03-AUG-15	01-AUG-16	02-AUG-17				1		
49	2012/05/30	25-DEC-13	25-JUN-14	07-SEP-15	11-JAN-17	19-JAN-18	1		1		1	

- ・ 調査日_1st～調査日_6th が HAM ねっとデータの調査日時、新規 2014～更新 2017 が臨床検査個人票のデータの有無を示している。黄色のマークで染めたデータが、突合対象のデータとなる予定
- ・ 突合に際しては、HAM ねっと調査データが隔年ではなくできるだけ連続するよう調整する予定でデータ処理を進めている。

以上