

【アンメットニーズ検証を目的としたナショナルデータベースおよび小児慢性特定疾病・指定難病データベースによる医療実態の把握に関する研究】

令和2年度厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
(免疫アレルギー疾患等政策研究事業(免疫アレルギー疾患政策研究分野))
難治性・希少免疫疾患におけるアンメットニーズの把握とその解決に向けた研究
分担研究報告書

アンメットニーズ検証を目的としたナショナルデータベースおよび
小児慢性特定疾病・指定難病データベースによる医療実態の把握に関する研究

研究分担者

井上永介

昭和大学 統括研究推進センター 教授

研究協力者

井上祐三朗

千葉県こども病院 アレルギー・膠原病科 主任医長

酒井良子

東京女子医科大学病院 膠原病リウマチ内科学講座 特任助教

清水正樹 (自己免疫班兼任)

東京医科歯科大学 小児地域成育医療学講座 講師

杉原毅彦 (自己免疫班兼任)

東京医科歯科大学大学院 医歯学総合研究 生涯免疫難病学講座
准教授

田中孝之 (自己炎症班兼任)

日本赤十字社大津赤十字病院 小児科 副部長

松下雅和 (自己免疫班兼任)

順天堂大学 医学部膠原病内科学講座 准教授

光永可奈子

千葉県こども病院 アレルギー・膠原病科 医員

A. 研究目的

分担研究項目はナショナルデータベース (NDB) と小児慢性特定疾病・指定難病データを用いて難治性・希少免疫疾患におけるアンメットニーズ (UMN) に関する診療実態をデータベース (DB) 解析を行って検討することである。今年度は各疾患研究班より UMN 案を収集し、各 DB の利用申請を行って次年度の解析につなげることである。

B. 方法

厚生労働省から提供される NDB と小児慢性・指定難病データを申請するためにまずは、若年性特発性関節炎/関節リウマチ (JIA/RA)、高安動脈炎 (TAK)、CAPS における想定される UMN 案を患者[疾患]特性、医療の内容、医療費、ライフステージ、地域格差に分類し収集した。また、各疾患に共通して抽出する項目についても検討を行った。UMN 案の選定に際し、各疾患の担当者とともに DB で検証する意義や実現可能性を考慮し検討した。続いて全身性エリテマトーデス (SLE) と抗リン脂質抗体症候群 (APS) についても同様に収集した UMN 案の確認、整理を行った。

C. 結果

疾患特異的な UMN 案に加えて、疾患に共通して、症例数、重症度の分布、高血圧、糖尿病、骨粗鬆症の頻度、身長と体重の分布、薬物治療の実態、

必要な検査の実施状況、受診率、治療薬の費用、検査費用、成人への移行に関する実態、地域別症例数、地域別薬物治療の実態を抽出することとした。各疾患の担当者から収集した UMN 案の中から DB で検証できるものを最終選定し、さらに NDB で検証するもの、小児慢性・指定難病データで検証するもの、双方で検証するもの、に分類した。NDB 申請に際し、必要なデータ (傷病名コード、医薬品コード、診療行為コード等) を各マスタから選択し、厚労省に申請した。これを踏まえ、各 DB への申請を行った。JIA/RA、TAK、CAPS の審査は 2021 年 3 月に行われ、現在審査結果を待っている状況である。SLE と APS についてもデータベース利用申請を行い、6 月に審査予定である。指定難病患者データおよび小児慢性特定疾病児童等データは利用申請を行い、3 月に許可された。

D. 考察

NDB は各疾患の定義付けの際に、病名のみならず治療内容等を用いて条件を設定する工夫が必要であり、その妥当性の検証が後に必要となる。また臨床情報を一切含まないため、疾患の重症度に関する検討は不可能である。その一方で、小児慢性・指定難病データは、詳細な医療行為の情報は含まないが、家族歴・臨床所見・検査所見・経過・重症度などの臨床情報や、社会保障・生活状況などの社会的状況を統合的に解析することが可能であ

る。今後は両 DB の特徴を生かして UMN 案の検証を進めていく予定である。

E. 結 論

代表的難治性・希少免疫疾患である RA/JIA、TAK、CAPS、SLE、APS における想定される UMN 案を収集し、今後の DB による検証の申請準備を実施した。