

## 【製薬企業・保険者のアンメットニーズの探索研究】

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

製薬企業・保険者のアンメットニーズの探索研究

研究分担者

森 雅亮 東京医科歯科大学大学院 医歯薬学総合研究科 教授  
吉藤 元 京都大学 医学部附属病院 免疫・膠原病内科 病院講師

研究協力者

菊地主税 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会

**研究要旨**

日本製薬工業協会（製薬協） 医薬品評価委員とともに、成人領域と小児領域に分別してリウマチ・膠原病のアンメットニーズ（UMN）に関するアンケート案を検討し、2020年12月に両者の合意のもとでアンケート内容を確定した（資料1）。調査医薬品評価委員である各社代表メンバー（72社）に委託し、各企業に属する個人に対して2021年1月18日～2月5日に期間にWebによるアンケート調査を施行した。

本研究は、これまで協働する機会が殆どなかった製薬協および製薬企業の方々のご協力を得て、製薬企業者のUMNについて検討した稀有な研究といえる。記述回答についての詳細な解析結果を含めて、患者や保険者を含む様々な立場からのUMN探索結果と比較し、その差異を浮き彫りにすることで、本研究班の目標であるUMNの解決を図れる可能性があると考えられる。解析結果は、2021年8月に公表予定である。

## A. 研究目的

患者・医療者以外の医療利害関係者として製薬企業・保険者等が存在する。他の医療利害関係者のアンメットニーズを把握することにより、患者代表者のアンメットニーズを多面的に捉え、その特徴や客観性を明らかにすることが可能となる。製薬企業者のアンメットニーズについて探索を行った。

## B. 方法

日本製薬工業協会（製薬協）の医薬品評価委員とともに、成人領域と小児領域に分別して難治性・希少免疫疾患のアンメットニーズに関するアンケート案を検討し、2020年12月に両者の合意のもとでアンケート内容を確定した（資料1）。調査医薬品評価委員である72社代表に委託し、各企業に属する個人に対しWebによる調査を実施した。

## C. 結果

アンケート実施期間は、2021年1月18日～2月5日で、調査に同意した製薬企業社員203名から回答を得た。2021年5月にアンケート調査結果を一部集計し終えた（資料2）が、5～8月に記述回答について研究協力者の所属する製薬協を交えて詳細な解析を試みる予定である。

## D. 考察

本研究は、これまで協働する機会が殆どなかった製薬協および製薬企業の協力を得て、製薬企業者のUMNについて検討した稀有な研究といえる。記述回答についての詳細な解析結果を含めて、患者や保険者などの様々な立場からのUMN探索結果と比較し、その差異を浮き彫りにすることで、本研究班の目標であるUMNの解決を図れる可能性があると考えられる。

## E. 結論

製薬企業者のUMNについて把握する目的で、製薬協医薬品評価委員会とともに成人領域および小児領域のリウマチ・膠原病に特化したUMNに関するアンケート案を検討し、製薬企業者にWebアンケート調査を実施した。解析結果は、2021年8月頃に公表予定である。保険者に対するUMNの探索については、保険者との調整を経て次年度以降の実施を検討している。

## F. 健康危険情報

なし。

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

1. Shimizu M, Mizuta M, Okamoto N, Yasumi T, Iwata N, Umebayashi H, Okura Y, Kinjo N, Kubota T, Nakagishi Y, Nishimura K, Mohri M, Yashiro M, Yasumura J, Wakiguchi H and Mori M. Tocilizumab modifies clinical and laboratory features of macrophage activation syndrome complicating systemic juvenile idiopathic arthritis. *Pediatr Rheumatol Online J*. 18(1);2. 2020
2. Matsumoto T, Matsui T, Hirano F, Tohma S, Mori M. Disease activity, treatment and long-term prognosis of adult juvenile idiopathic arthritis patients compared with rheumatoid arthritis patients. *Mod Rheumatol*. 30(1);78-84. 2020
3. Tanaka Y, Kuwana M, Fujii T, Kameda H, Muro Y, Fujio K, Itoh Y, Yasuoka H, Fukaya S, Ashihara K, Hirano D, Ohmura K, Tabuchi Y, Hasegawa H, Matsumiya R, Shirai Y, Ogura T, Tsuchida Y, Ogawa-Momohara M, Narazaki H, Inoue Y, Miyagawa I, Nakano K, Hirata S, Mori M. 2019 Diagnostic criteria for mixed connective tissue disease (MCTD): From the Japan research committee of the ministry of health, labor, and welfare for systemic autoimmune diseases. *Mod Rheumatol*. 31(1);29-33. 2020
4. Kobayashi I, Akioka S, Kobayashi N, Iwata N, Takezaki S, Nakaseko H, Sato S, Nishida Y, Nozawa T, Yamasaki Y, Yamazaki K, Arai S, Nishino I, Mori M. Clinical practice guidance for juvenile dermatomyositis (JDM) 2018-Update. *Mod Rheumatol*. 30(3);411-423. 2020
5. Yamazaki S, Shimbo A, Akutsu A, Takase H, Morio T, Mori M. Importance of pediatric

- rheumatologists and transitional care for juvenile idiopathic arthritis-associated uveitis: a retrospective series of 9 cases. *Pediatr Rheumatol Online J.* 18(1);26. 2020
6. Yamazaki K, Akioka S, Mori M. External validation of the EULAR/ACR idiopathic inflammatory myopathies classification criteria with Japanese paediatric cohort. *Rheumatology (Oxford)*. doi: 10.1093/rheumatology/keaa274. Online ahead of print. 2020
  7. Tanaka E, Mori M. Refractory secondary thrombotic microangiopathy with kidney injury associated with systemic lupus erythematosus in a pediatric patient: a case report. *CEN Case Rep* 9(4):301-307. 2020
  8. Kobayashi S, Inui A, Tsunoda T, Umetsu S, Sogo T, Mori M, Shinkai M, Fujisawa T. Liver cirrhosis in a child associated with Castleman's disease: A case report. *World J Clin Cases.* 8(9):1656-1665. 2020
  9. Iwata N, Tomiita M, Kobayashi I, Inoue Y, Nonaka Y, Okamoto N, Umebayashi H, Hara R, Ito Y, Sato Y, Mori M. Utility of the EULAR Sjögren syndrome disease activity index in Japanese children: A retrospective multicenter cohort study. *Pediatr Rheumatol Online J.* 18(1):73. 2020
  10. Matsumoto T, Mori M. Questionnaire survey on transitional care for patients with juvenile idiopathic arthritis (JIA) and families. *Mod Rheumatol*. doi: 10.1080/14397595.2020.1813369. Online ahead of print. 1-6. 2020
  11. Tomiita M, Kobayashi I, Mori M. Clinical practice guidance for Sjögren's syndrome in pediatric patients (2018) - summarized and updated. *Mod Rheumatol*. doi: 10.1080/14397595.2020.1816319. Online ahead of print. 1-11. 2020
  12. Igarashi T, Takei S, Tanaka E, Kaneko U, Kubota T, Okamoto K, Ohshima S, Mori M. Investigation of dual-energy X-ray absorptiometry units necessary for pediatric rheumatologists in Japan and a proposal for shared access to equipment among hospitals. *J Nippon Med Sch*. doi: 10.1272/jnms.JNMS.2021\_88-407. Online ahead of print. 2020.
  13. Okada K, Mizuno M, Moriuchi H, Kusuda S, Morioka M, Mori M, Okamoto K, Okada K, Yoshihara S, Yamagishi H, Yokoyama U, Kubota T, Kudo K, Takagi M, Ito S, Kanamori Y, Sasahara Y. The Working Group for revision of "Guidelines for the use of palivizumab in Japan": A committee report. *Pediatr Int.* 62(11) 29. 2020
  14. Yokomichi H, Tanaka-Taya K, Koshida R, Nakano T, Yasui Y, Mori M, Ando Y, Morino S, Okuno H, Satoh H, Arai A, Mochizuki M, Yamagata Z. Immune thrombocytopenic purpura risk by live, inactivated and simultaneous vaccinations among Japanese adults, children and infants: a matched case-control study. *Int J Hematol.* 112(1) 105-114. 2020
  15. Mori T, Saburi M, Hagihara M, Mori M, Yamazaki R, Kato J. Long-term remission of cryopyrin-associated periodic syndrome after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation. *Ann Rheum Dis*. doi: 10.1136/annrheumdis-2020-218695. Online ahead of print. 2020
  16. Okamoto K, Nakamura Y, Mori M. Hospitalisations due to respiratory syncytial virus infection in children with Down syndrome before and after palivizumab recommendation in Japan.

17. Mori M. What are the main revised points in the 6th diagnostic guidelines for Kawasaki disease? "Pediatr Int. 62(10);1133-1134. 2020

## 2. 学会発表

1. Ruperto N, Brunner HI, Mori M, Clinch J, Syed R, Iwata N, Bass DL, Ji B, Hammer AE, Okily M, Eriksson G, Quasny H.. PLUTO Trial: Sensitivity Analyses of SRI4 response with Belimumab vs Placebo in Paediatric Patients With Childhood-Onset Systemic Lupus Erythematosus (cSLE). European League Against Rheumatism 2020 2020. 06. 01
2. 森 雅亮. アニュアルレクチャー. 小児リウマチ性疾患における移行期医療の取り組みと実際. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
3. 森 雅亮, 山崎和子, 武井修治, 伊藤保彦, 小林一郎, 富板美奈子, 岡本奈美. . シンポジウム. みんなで創る移行期医療 ～実臨床に役立つ最近の進展と話題～. 全国調査から浮かび上がった小児リウマチ疾患の移行医療の現状と課題. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
4. 森 雅亮. シンポジウム. 関節リウマチ診療ガイドライン 2020 -成人移行期医療-. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
5. 森 雅亮. ワークショップ. SLE・抗リン脂質抗体症候群. 小児及び成人の SLE 患者にベリムマブを静脈内投与した際の有効性及び安全性:試験横断的比較.. 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
6. 阿久津裕子, 真保麻実, 毛利万里子, 山崎 晋, 森 雅亮. . NXP-2 抗体陽性若年性皮膚筋炎の 4 例. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・

7. 山崎晋, 真保麻実, 阿久津裕子, 森 雅亮. . ワークショップ 妊娠・出産・移行医. 若年性特発性関節炎関連ぶどう膜炎に対する移行期医療と小児リウマチ医の重要性. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
8. 真保麻実, 阿久津裕子, 山崎晋, 森 雅亮. . 付着部炎小児例の臨床像についての検討.. 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
9. 謝花幸祐, 松井利浩, 當間重人, 森 雅亮. . ワークショップ リウマチ性疾患の疫学. 全身型を除く若年性特発性関節炎における JADAS-27 と関節リウマチの各疾患活動性指標の関連性についての検討- CoNinJa を利用した解析. . 第 64 回日本リウマチ学会総会・学術集会. 2020. 08. 01
10. 森 雅亮. シンポジウム 免疫疾患:小児から成人へ. 小児リウマチ性疾患の免疫学的特徴と成人移行期への課題. 第 46 回日本臨床免疫学会総会 2020. 10. 01
11. 森 雅亮, 清水正樹. . シンポジウム 難治性小児病態に対するアフェレシス. 小児膠原病リウマチ疾患に対するアフェレシス療法. 第 41 回日本アフェレシス学会学術大会. 2020. 10. 01
12. 森 雅亮. シンポジウム 難治性川崎病の新しい治療戦略. 重症川崎病治療における、生物学的製剤 (インフリキシマブ) と血漿交換療法の位置づけ. 第 40 回 川崎病学会学術総会 . 2020. 10. 01
13. Akira Nishimura, Karunki Yokoyama, Takuya Naruto, Tomohiro Morio, Akinori Kanai, Toshihiko Imamura, Katsuyoshi Koh, Yasushi Ishida, Arinobu Tojo, Masatoshi Takagi. Myeloid/Natural killer cell precursor acute leukemia における臨床像とゲノム異常. 第 62 回日本小児血液・が

ん学会学術集会 2020. 11. 21 Web 開催  
(発表誌名巻号・頁・発行年等も記入)

#### H. 知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む)

##### 4. 特許取得

該当なし。

##### 5. 実用新案登録

該当なし。

##### 6. その他

該当なし。

\*最後に、アンケート調査にご協力いただいた製  
薬企業の皆様に、この場をお借りして深謝します。