

【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3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
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	明治薬科大学 公衆衛生・疫学研究室 准教授

研究協力者

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)	聖マリアンナ医科大学 医学部 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

研究要旨

当分担研究目的は、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検討することである。両データベースの利用申請のために若年性特発性関節炎/関節リウマチ (JIA/RA)、高安動脈炎 (TAK)、CAPS、さらに全身性エリテマトーデス (SLE) と抗リン脂質抗体症候群 (APS) において想定される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。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。両データベースともに厚生労働省より利用承認が得られた。

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。

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。

B. 研究方法

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

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、2021 年 7 月 5 日に承認された。SLE と APS についてもデータベース利用申請を行い、2021 年 6 月に審査が行われ、2021 年 7 月 9 日に承認された。現在、データ提供を待っている状況である。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、3 月に利用が許可された。2022 年 1 月にデータ提供をうけ、2 月に厚労省による実地監査が終了した。現在、データ解析を行っている。

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。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

なし

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

なし

H. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

なし

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし