

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）

「特発性造血障害に関する調査研究」

分担研究報告書

指定難病患者データベースによる再生不良性貧血の疫学研究

研究分担者 太田 晶子 埼玉医科大学医学部社会医学・准教授

研究協力者 島田 直樹 国際医療福祉大学基礎医学研究センター・教授

研究要旨

指定難病患者データベースを利用し、再生不良性貧血の臨床疫学像を把握するための記述疫学研究を継続して進めた。研究計画として、指定難病患者データベースの再生不良性貧血臨床調査個人票について、2018年から2021年までのデータを分析することとした。2021年12月に厚生労働省にデータ提供の申出を行い、2022年5月に難病等患者データの提供に関する承諾通知を受け、データの利用に関する依頼を行った。今後、データ提供を受け、データベースの入力状況を確認し、罹患率、有病率、診断、治療実態など、最近年の臨床疫学特性の把握や経年変化の分析を行うとともに、データベースの有用性を評価する予定である。

A. 研究目的

再生不良性貧血は、厚生労働省の特定疾患治療研究事業の医療受給対象疾患に指定されてきた。2015年1月からは、難病法施行による難病対策の制度変更により、難病法に基づく指定難病として医療費助成対象となっている。特定疾患治療研究事業は患者の医療費の自己負担分を公費で補助し、受療を促進することで、多くの患者情報を得て病因解明や治療法開発などの調査研究を推進しようとするものである。特定疾患治療研究事業において臨床調査個人票（個人票）は全ての医療受給申請で提出され、これにより患者（医療受給者）の基本的臨床情報を得ることができる。個人票の内容は、厚生労働省の難病患者認定適正化事業において、都道府県によってWISH（厚生労働省行政情報総合システム）に導入されている特定疾患調査解析システムに電子入力され、オンラインで厚生労働省へデータが届く仕組みになっていた。2003年度以来、本格的に電子入力されるようになり、その利用が可能となった。これまで我々は、個人票を用いて再生不良性貧血の疫学像（罹患率、性年齢分布、診断、重症度、治療実態、

重症度変化とその関連要因、受給継続率など）を分析し^{1)~12)}、その有効活用を進めてきた。

2015年1月難病法施行の制度変更に伴い、国は新たな指定難病患者データベースを構築し、2019年度後半から新たなデータベースの利用が可能となった。2019年度～2020年度の研究で、我々は当該データベースの個人票データを利用して、2015年～2017年の再生不良性貧血の基本的疫学像の分析を行った。本年度は、新たに2018年から2021年までのデータを分析することとした。

本研究は、指定難病患者データベースを用いて、再生不良性貧血の患者数（受給者数）、性・年齢分布、発病年齢分布、生活状況、重症度、臨床所見の有所見状況、治療実態の分析を行い、最新の疫学像を明らかにするとともに、データベースの有用性を評価することを目的とする。

B. 研究方法

資料として、2018年～2021年の再生不良性貧血臨床調査個人票を用いる。個人票データの利用は、「指定

難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン（平成 31 年 2 月厚生労働省）」に基づき、厚生労働省にデータ提供の申出を行い、承認を得てデータ提供を受け実施する。

（倫理面への配慮）

「指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン（平成 31 年 2 月厚生労働省）」に基づき実施する。提供データには、氏名・住所等個人が特定されるものは含まれていない。本研究の実施については、埼玉医科大学倫理審査委員会の承認を得た。

C. 研究結果

2021 年 12 月に再生不良性貧血の臨床調査個人票データ提供の申出を厚生労働省に行い、2022 年 3 月、第 7 回ワーキンググループの審査会で審査を受けた。2022 年 5 月に難病等患者データの提供に関する承諾を受け、データの利用に関する依頼を行った。2023 年 3 月現在、データ提供について手続き中の状況が続いている。今後データ提供を受け次第、解析を実施する。

D. 考察

今後、データ提供を受け、再生不良性貧血の臨床調査個人票データの入力状況を確認し、罹患率、有病率、診断、治療実態などを分析し、最近年の臨床疫学特性の把握および経年変化の分析を行い、データベースの有用性を評価する予定である。

E. 結論

指定難病患者データベースを利用し、再生不良性貧血の臨床疫学像を把握するための記述疫学研究を継続して進めてきた。研究計画として、指定難病患者データベースの再生不良性貧血個人票について、2018 年から 2021 年までのデータを分析することとした。2021 年 12 月に厚生労働省にデータ提供の申出を行い、2022 年 5 月に難病等患者データの提供に関する承諾通知を受け、データの利用に関する依頼を行った。今後、データ提供を受け、データベースの入力状況を確認し、

罹患率、有病率、診断、治療実態など、最近年の臨床疫学特性の把握や経年変化の分析を行うとともに、データベースの有用性を評価する予定である。

文献

- 1)太田晶子、島田直樹. 臨床調査個人票による再生不良性貧血の基本的疫学特性の観察. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 23 年度 総括・分担研究報告書, 2012. 64-70.
- 2)島田直樹、太田晶子. わが国の再生不良性貧血患者の治療状況. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 23 年度 総括・分担研究報告書. 2012.123-131.
- 3)太田晶子、島田直樹. 臨床調査個人票データベースの入力率と有用性の検討. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成24年度 総括・分担研究報告書. 2013. 75-79.
- 4)太田晶子、島田直樹. 再生不良性貧血の記述疫学—重症度と臨床所見の関係—. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 24 年度 総括・分担研究報告書. 2013. 80-86.
- 5)島田直樹、太田晶子. 再生不良性貧血患者の臨床像などに関する縦断的検討. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 24 年度 総括・分担研究報告書. 2013. 131-135.
- 6)太田晶子、島田直樹. 再生不良性貧血の罹患率の推計—臨床調査個人票の解析—. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 25 年度 総括・分担研究報告書. 2014. 77-81.
- 7)島田直樹、太田晶子. 再生不良性貧血患者の新規申請から 3 年目までの縦断的検討. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 25 年度 総括・分担研究報告書. 2014. 127-129.

8)太田晶子、島田直樹. 再生不良性貧血の受給継続率の把握－臨床調査個人票の解析－. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 26 年度 総括・分担研究報告書. 2015. 82-85.

9)島田直樹、太田晶子. 再生不良性貧血患者の改善に関連する要因. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究 平成 26 年度 総括・分担研究報告書. 2015. 130-134.

10)太田晶子、島田直樹. 再生不良性貧血の重症度分布の変化－臨床調査個人票の解析－. 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業) 特発性造血障害に関する調査研究 平成 27 年度総括・分担研究報告書. 2016. 51-58.

11)太田晶子、島田直樹. 重症再生不良性貧血の罹患率の推計－臨床調査個人票の解析－. 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業) 特発性造血障害に関する調査研究 平成 28 年度総括・分担研究報告書. 2017. 50-54.

12)太田晶子、島田直樹. 重症再生不良性貧血の記述疫学－臨床調査個人票の解析－. 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業) 特発性造血障害に関する調査研究 平成 29 年度総括・分担研究報告書. 2018. 40-42.

F. 健康危険情報

該当なし

G. 研究発表

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。）

1. 特許取得 該当なし
2. 実用新案登録 該当なし
3. その他 該当なし