

令和4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による  
医療実態の把握に関する研究

研究分担者

酒井 良子	明治薬科大学公衆衛生・疫学研究室 准教授
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	千葉大学大学院医学研究院総合医科学 特任講師

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

厚生労働省より 2019 年度のデータが提供され、代表的難治性・希少免疫疾患において創出された医療者 UMN の検証を目的とした解析を行った。若年性特発性関節炎/関節リウマチ(JIA/RA)：疾患定義に合致した人数は JIA 19,880 人、20 歳以上 RA 830,376 人で、主要治療薬の処方割合は、メトトレキサートはそれぞれ 40.4%、51.5%、生物学的製剤は 36.7%、25.5%であった。JIA に特徴的な併存症である虹彩炎・ぶどう膜炎は 2.3%だった。一人あたりの薬剤費は JIA が RA の 2.8 倍であった。高安動脈炎 (TAK)：疾患定義に合致した人数は 7,426 人であった。主要治療薬の処方割合は、経口グルココルチコイドは 94.3%、2017 年に本疾患に承認されたトシリズマブは 16.0%で、40 歳以上の年齢階層と比べ若年層の方が処方割合が高かった。2018 年 4 月に保険適用となった PET-CT は 10.6%で実施されていた。クリオリピン関連周期熱症候群 (CAPS)：疾患定義に合致した人数は 172 人だった。カナキマブが 62.2%に処方されていた。特徴的な併存症である難聴、アミロイドーシスの割合はそれぞれ 25.6%、28.5%だった。全身性エリテマトーデス (SLE)・原発性抗リン脂質抗体症候群 (APS)：疾患定義に合致した人数は SLE では 74,277 人、原発性 APS では 16,216 人だった。SLE の主要臓器病変であるループス腎炎は 38.5%で確定診断されていた。年代別では 0-14 歳で 69.9%、15 歳以上で 38.1%と小児でより高率であった。SLE における処方割合は、ヒドロキシクロロキン 21.4%、ミコフェノール酸モフェチル 12.0%、ベリムマブ (2017 年に成人 SLE に承認) 3.8%、リツキシマブ 0.6%であった。

専門施設への受療は RA が最も低く 70.1%であったが、それ以外の疾患はいずれも 80%以上であった。これまでに小児・成人医療ともに専門施設の偏在が報告されていることより、これらの医療の地域格差が推察された。

本解析結果に対するリウマチ内科医、小児リウマチ医による解釈と最終的な考察の集約を行い、今後の課題と解決策の提起に繋げていく予定である。

## A. 研究目的

本研究の目的はナショナルデータベース (NDB) 解析により、代表的難治性・希少免疫疾患のアンメットニーズ (UMN) に関する診療実態を明らかにすることである。今年度は厚労省よりデータが提供され解析を実施した。

## B. 研究方法

厚生労働省から提供された NDB (2019 年 4 月から 2020 年 3 月) を用いて、若年性特発性関節炎/関節リウマチ (JIA/RA)、高安動脈炎 (TAK)、クリオリピン関連周期熱症候群 (CAPS)、全身性エリテマトーデス (SLE) と抗リン脂質抗体症候群 (APS) 患者を定義し、各対象疾患における想定される医療者の UMN (詳細はデータベース解析での検証を前提とした医療者のアンメットニーズの創出研究の分担研究報告書を参照) の検証を行った。

各疾患の定義は以下の通りである

<JIA>

ICD10 コード (M08. x 若年性関節炎 または M09. 0 乾癬性関節炎) が一度でも確定病名として付与され、

かつ以下の治療薬のうちいずれかが確定診断と同月に処方された月が 2 か月以上有した症例

注釈：JIA は全身型、少関節炎型、リウマトイド因子 (RF) 陽性多関節炎型、RF 陰性多関節炎型、乾癬性関節炎型、付着部炎関連関節炎型、分類不能関節炎型の 7 病型に分類されるが、本定義の適用では、病型別のデータ抽出は不可能である。本邦における参考 JIA 病型比率は：全身型 38.8%、少関節炎型 22.4%、RF 陽性多関節炎型 19.4%、RF 陰性多関節炎型 17.9%、その他 1.5% である。(日本小児リウマチ学会レジストリデータ. Narazaki H, et al. Mod Rheumatol. 2022)

治療薬：

- 非ステロイド性抗炎症薬 (イブプロフェンまたはナプロキセン)、
- 経口グルココルチコイド (プレドニゾン、メチルプレドニゾン)
- メチルプレドニゾンパルス
- メトトレキサート (MTX)

<RA>

ICD10 コード (M05. x 血清反応陽性関節リウマチまたは M06. x (M061 は除外) その他の関節リウマチ) が一度でも確定病名として付与され、

かつ抗リウマチ薬 (従来型抗リウマチ薬 (ブシラミン、サラゾスルファピリジン、イグラチモド、ミゾリピン、金チオリンゴ酸ナトリウム、オーラノフィン、D-ペニシラミン、ロベンザリット二ナトリウム、アクタリット、レフルノミド)、生物学的製剤 (インフリキシマブ、エタネルセプト、アダリムマブ、セルトリズマブペゴル、ゴリムマブ、トシリズマブ、サリルマブ、アバタセプト)、低分子標的薬 (トファシチニブ、バリシチニブ、ペフィシチニブ、ウパダシチニブ) ) のいずれかが確定診断と同月に処方された月が 2 か月以上有した症例

<TAK>

ICD10 コード (M314 大動脈弓症候群 (高安病)) が一度でも確定診断として付与され、かつ以下の治療薬のうちいずれかが確定診断と同月に処方された症例のうち、以下の除外病名が付与されていない症例

治療薬：

- 経口グルココルチコイド
- メチルプレドニゾンパルス
- 免疫抑制剤・免疫調整剤 (メトトレキサート、アザチオプリン、シクロホスファミド、ミコフェノール酸モフェチル、タクロリムス、シクロスポリン)
- 生物学的製剤 (トシリズマブ、インフ

リキシマブ、エタネルセプト)

除外病名：ICD10 コード M353 (リウマチ性多発筋痛症)、M316 (巨細胞性動脈炎、側頭動脈炎)

#### <CAPS>

ICD10 コード D898 (その他の明示された免疫機構の障害、他に分類されないもの)のうち、傷病名コード 8848332 クリオピリン関連周期熱症候群、傷病名コード 8847034 新生児期発症多臓器系炎症性疾患、傷病名コード 8846219 マックル・ウエルズ症候群、傷病名コード 8846994 家族性寒冷自己炎症症候群が一度でも確定病名として付与され、

かつカナキヌマブまたは経口グルココルチコイドが確定診断と同月に一度でも処方された症例

・難聴の定義：ICD10 コード H90. x (伝音及び感音難聴) または H91. x (その他の難聴) が確定診断で一度でも付与された場合に難聴ありと定義した。・アミロイドーシスの定義：ICD10 コード E85. x (アミロイドーシス (アミロイド症)) が確定診断で一度でも付与された場合にアミロイドーシスありと定義した。

#### <SLE>

ICD10 コード (M321 臓器または器官系の併発症を伴う SLE または M329 SLE、詳細不明) が一度でも確定病名として付与され、かつ以下の治療薬のうちいずれかが確定診断と同月に処方された症例

治療薬：

- 経口グルココルチコイド、メチルプレドニゾロンパルス
- 免疫抑制薬・免疫調整薬 (アザチオプリン、シクロホスファミド、ミコフェノール酸モフェチル (MMF)、タクロリムス、シクロスポリン、メトトレキサート、ヒドロキシクロロキン)

- 生物学的製剤 (リキシマブ、ベリムマブ)

#### <APS>

ICD10 コード (D686 抗リン脂質抗体症候群、0991 抗リン脂質抗体症候群合併妊娠) が一度でも確定病名として付与され、かつ低用量アスピリン、ワルファリンカリウム、ヘパリンが確定診断と同月に一度でも処方された症例

### C. 結果

#### <JIA/RA>

疾患定義に合致した人数は、JIA 19,880 人 (女性 53.0%、年齢層別構成比:0-14 歳 1.6%、15-24 歳 10.4%、25-39 歳 10.2%、40 歳以上 77.8%)、20 歳以上の RA830,376 人 (女性 75.8%、年齢層別構成比:20-24 歳 0.4%、25-39 歳 3.9%、40 歳以上 95.7%) だった。

**治療薬の処方割合：**JIA における治療薬の処方割合は、非ステロイド性抗炎症薬 68.5%、経口グルココルチコイド 34.5%、デキサメタゾン静脈内注射 1.9%だった。従来型抗リウマチ薬は 52.1% (MTX 40.4%、サラゾスルファピリジン (SASP) 12.6%) であった。生物学的製剤の処方割合は 36.7% (うち IL-6 阻害剤 21.3%、TNF 阻害薬 77.3%、T 細胞選択的共刺激調節剤 1.4%、IL-1 阻害薬 0.5%) だった。本研究対象期間 (2019 年 4 月から 2020 年 3 月) は、低分子標的薬は JIA に保険収載されておらず、解析対象外とした。一方、RA における治療薬の処方割合は、従来型抗リウマチ薬 89.3% (MTX 51.5%、SASP 26.2%、ブシラミン 12.8%)、生物学的製剤は 25.5% (うち IL-6 阻害薬 26.0%、TNF 阻害薬は 58.8%、T 細胞選択的共刺激調節剤は 17.7%) だった。JAK 阻害薬の処方割合は 2.3% であった。

**治療薬の薬剤費：**一人あたりの薬剤費 (/月) は JIA では 57,770 円、RA では 20,409 円であり、JIA が RA の 2.8 倍だった。

**検査・手術の実施割合：**JIA では、マトリッ

クスメタロプロテイナーゼ-3 (MMP-3)の測定は 53.0%、フェリチン定量が 23.6%、視力検査は 11.5%の患者で実施されていた。また、何らかの関節手術を施行された患者の割合は 0.9% (人工関節置換術 0.5%、関節形成術 0.2%、滑膜切除術 0.2%) であった。一方、RA で何らかの関節手術を施行された患者の割合は 1.4% (人工関節置換術 1.0%、関節形成術 0.4%、滑膜切除術 0.1%) であった。

**併存症の有病率：**JIA では、高血圧は 19.2%、糖尿病は 10.4%、骨粗鬆症は 33.5%、うつ病は 5.2%、虹彩炎・ぶどう膜炎は 2.3%だった。RA においては、高血圧は 26.1%、糖尿病は 12.1%、骨粗鬆症は 33.5%、うつ病は 4.5%だった。

**受診施設：**専門施設 (小児リウマチ中核病院 (厚生労働科学研究「若年性特発性関節炎を主とした小児リウマチ性疾患の診断基準・重症度分類の標準化とエビデンスに基づいたガイドラインの策定 に関する研究」班 (課題番号：H27-難治等(難)-一般-029) 作成)、またはリウマチ教育認定施設またはリウマチ専門医所属施設) に受診した患者の割合は JIA では 82.5%、RA では 70.1%だった。

#### < TAK >

疾患定義に合致した人数は 7,426 人 (女性 79.4%、年齢層別構成比 0-14 歳 1.3%、15-24 歳 7.2%、25-39 歳 18.2%、40 歳以上 73.3%) であった。

**治療薬の処方割合：**経口グルココルチコイドは 94.3%で、いずれの年齢階層においても 90%以上であった。トシリズマブ (TCZ) は 16.0%で、2017 年に本疾患に承認された皮下注射剤は 14.8%、保険適用外である点滴剤は 1.4%で処方されていた。TCZ は 40 歳以上と比べ若年層においてより処方割合が高い傾向であった。また、10 歳未満の症例に限した TCZ 処方に占める点滴剤の割合は、対象が 10 人未満のため匿名レセプト情報・匿名特定健診等情報の提供に関するガイドラインにより公表不可である。TCZ 以外の生物

学的製剤 (インフリキシマブ、エタネルセプト) の処方割合はそれぞれ、3.4%、0.5%だった。

**治療薬の薬剤費：**一人あたりの薬剤費 (/月) は TAK 全体では 2,2450 円、TCZ の処方を有した症例では 90,324 円、TCZ の処方がなかった症例は 9,536 円だった。

**検査・手術の実施割合：**PET-CT は 10.6%、心エコー検査は 39.9%、CT は 61.5%、MRI は 34.6%の患者に施行された。何らかの TAK 関連の手術 (人工血管置換術、大動脈弁置換術、大動脈基部置換術、冠動脈バイパス手術、経皮的冠動脈形成術、血管内ステントグラフト内挿術) が施行された患者の割合は 1%台だった。また、年齢階層別 (0-14 歳、15-24 歳、25-39 歳、40 歳以上) に見ると、いずれの合併症も 40 歳以上は他の年齢階層と比べて有病率が高かった。

**併存症の有病率：**高血圧は 34.6%、糖尿病は 14.8%、骨粗鬆症は 47.7%、うつ病は 6.2%だった。

**受診施設：**専門施設 (小児リウマチ中核病院 またはリウマチ教育認定施設またはリウマチ専門医所属施設) に受診した患者の割合は 81.4%だった。

#### < CAPS >

疾患定義に合致した人数は 172 人 (女性 59.3%、年齢層別構成比:0-14 歳 27.3%、15-24 歳 18.6%、25-39 歳 19.8%、40 歳以上 34.3%) だった。

**治療薬の処方割合：**経口副腎皮質ステロイドの処方割合は 51.7%、カナキヌマブは 62.2%の患者に処方されていた。

**併存症の有病率：**CAPS に特徴的な併存症である難聴は 25.6%、アミロイドーシスは 28.5%だった。

**受診施設：**専門施設 (小児リウマチ中核病院 またはリウマチ教育認定施設またはリウマチ専門医所属施設) に受診した患者の割合は 89.5%だった。

#### < SLE/APS >

疾患定義に合致した人数は SLE では 74,277 人（女性 59.3%、年齢層別構成比:0-14 歳 2.0%、15-24 歳 3.6%、25-39 歳 14.7%、40 歳以上 79.7%）、原発性 APS では 16,216 人（女性 79.5%、年齢層別構成比:0-14 歳 0.3%、15-24 歳 1.9%、25-39 歳 31.3%、40 歳以上 66.5%）だった。

**治療薬の処方割合：**SLE における処方割合は、経口グルココルチコイド 89.1%、ステロイドパルス 4.5%、ヒドロキシクロロキン 21.4%、MMF 12.0%、タクロリムス 22.9%、ベリムマブ 3.8%、リツキシマブは 0.6%だった。それ以外の薬剤については、ビスフォスフォネート製剤は 39.5%、ST 合剤は 19.3%の患者に処方されていた。年齢階層別（0-14 歳、15 歳以上）に見ると、MMF は 15 歳以上（11.6%）と比べて 15 歳未満（49.2%）の方が処方割合が高い傾向だったがそれ以外の薬剤の処方割合は同等だった。原発性 APS における処方割合は、低用量アスピリン 72.8%、ワルファリンカリウム 31.5%、ヘパリン 14.6%だった。

**検査・手術の実施割合：**血液学的検査は 89.4%、抗 DNA 抗体定量は 38.1%の患者に施行されていた。

**受診施設：**専門施設（小児リウマチ中核病院またはリウマチ教育認定施設またはリウマチ専門医所属施設）に受診した患者の割合は SLE 全体で 82.6%、すべての年齢階層でいずれも 80%台だった。

**併存症の有病率：**SLE において高血圧は 26.1%、糖尿病は 12.1%、骨粗鬆症は 33.5%、SLE の主要臓器病変であるループス腎炎は 38.5%で確定診断され、年代別では 0-14 歳で 69.9%、15 歳以上で 38.1%と小児でより高率であった。原発性 APS では、高血圧は 25.6%、糖尿病が 8.6%、骨粗鬆症は 17.9%だった。

#### D. 考察

NDB を用いて代表的難治性・希少免疫疾患である JIA/RA、TAK、CAPS、SLE/APS の診療実態を全国規模で初めて記述した。本研究で対

象としたのは 2019 年度であり、COVID-19 流行直前の医療実態を反映しているものである。新たに承認となった治療薬や検査などの診療実態や受診施設、併存症状などの実態が明らかとなった。

#### 疾患定義の妥当性

レセプト情報を用いて各疾患を定義付けする際に、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る。本研究においても各疾患の傷病名コードと治療薬の処方のデータを組み合わせることで疾患を定義した。本研究で定義された SLE の人数は 7 万人台であり、これは 2019 年に SLE の難病申請を出した人数が約 6 万人（難病情報センターより）だったことから、難病申請をしていない患者を含めると妥当な人数であると考えられる。一方で CAPS は、全国疫学調査による報告が 103 例である。今回はそれよりも 70 名ほど多かったことからレセプト情報における疾患定義の妥当性の検証が後に必要となる。

#### 本研究の限界点

JIA では、RA と対比されるのは JIA の病型のうち、関節型 JIA（少関節炎型、RF 陽性多関節炎型、RF 陰性多関節炎型）であるが、ICD10 コードを用いて病型を正確に分けたデータ抽出は当初の検討では困難であった。また、NDB は臨床情報を一切含まないことが限界点として挙げられる。そのため疾患の重症度や治療効果に関する直接的な検討は不可能であり、治療の妥当性は検証できない。しかし、このような限界点はあるものの、NDB は選択バイアスの影響が少なく、悉皆性が高いため我が国全体の対象疾患の診療実態を表している点で意義があると考えられる。

また、本研究ではデータ提供に時間を要したため、解析結果に対するリウマチ内科医、小児リウマチ医による解釈と最終的な考察の集約、今後の課題と解決策の提起が残されているが、以下に検討すべき主要な解析結果を述べる。

#### <JIA/RA>

先に言及したように JIA の病型別の解析

が本研究では困難であった。MTX は関節型 JIA で承認されている唯一の従来型抗リウマチ薬であるが、本解析結果では JIA での MTX の処方割合は 40.4%で、RA の 89.3%に比較して低い結果であった。これは関節型 JIA 以外の全ての JIA 病型を含むことによるもので、実際には関節型 JIA における MTX 処方割合はより高いと推察される。

JIA (関節型・全身型) は小児慢性特定疾病や指定難病による公費負担の対象疾患である一方で、保険適用のある薬剤が限定されていることが RA と異なる特徴である。一人あたりの薬剤費は JIA が RA の 2.8 倍であることが明らかとなった。生物学的製剤の処方割合の違いのほか、処方割合は低いが、JIA では薬価の高額な IL-1 阻害薬を使用していることなどが理由として考えられる。本研究では、関節型 JIA, 全身型 JIA の病型別の医療者 UMN が挙げられている。今後、本解析の JIA の病型別の疾患定義の可能性について、改めて再度検討を行う予定である。RA との薬剤費の格差についても、RA と病態の類似する関節型 JIA との比較を行い、薬剤費格差の背景や妥当性についての公費負担制度を含めた検証、今後に向けた課題・治療指針などの解決策を提起する。

また、虹彩炎・ぶどう膜炎はとくに JIA 少関節炎型に特徴的な併存症である。その全国的な頻度がこれまで把握されていなかったが、本解析では JIA に占めるは合併率が 2.3%と示された。

#### < TAK >

本邦では、2018年4月に PET-CT が診断への有用性が評価され、また TCZ が臨床試験を経て 2017 年に本疾患に承認された。本解析データの対象 (2019年4月から 2020年3月) は承認からそれほど経っていない時期であったが、PET-CT は全症例の 10.6%で実施されていた。新規発症例を抽出することは本解析では困難であるが、新規診断例ではより高率に実施されていると推察される。

TCZ は 16.0%で処方されていた。本邦で

実施された TAK に対する臨床試験では、12歳以上を対象としており、皮下注射製剤のみが承認となっている。12歳未満の TAK 症例における TCZ の使用実態の把握は UMN として挙げられていたが、該当する症例は少数であったため詳細についての結果は匿名レセプト情報・匿名特定健診等情報の提供に関するガイドラインにより公表不可であった。

#### < CAPS >

CAPS は本邦における主要自己炎症疾患のひとつであり、クリオピリン (Cryopyrin) の機能異常により、インフラマソームを介した procaspase-1 の活性化による IL-1 $\beta$  の過剰産生を基本病態とする疾患である。重症度により、軽症型の家族性寒冷自己炎症性症候群 (Familial cold autoinflammatory syndrome : FCAS)、中等症のマックル・ウェルズ症候群 (Muckle-Wells syndrome : MWS)、重症型の慢性乳児神経皮膚関節症候 (Chronic infantile neurologic cutaneous, and articular syndrome : CINCA)/新生児期発症多臓器系炎症性疾患 (Neonatal onset multisystem inflammatory disease : NOMID) の 3 病型に分類される。その診断に際し、遺伝子の遺伝子検査が必須であり、疾患関連変異の有無が診断の妥当性の判断に重要であるが、本解析ではその把握は困難であり、先述したように本解析における定義の限界と妥当性の問題がある。しかし、全国疫学調査等で把握されていない軽症例が含まれることも推察される。

カナキヌマブは 2011 年に本疾患に承認された唯一の生物学的製剤 (ヒト型抗ヒト **IL-1 $\beta$**  モノクローナル抗体) で 62.2%に処方されていた。予後を左右する病態のうち、感音性難聴は本疾患に特徴的なものであるが、本解析では 25.6%だった。難聴の重症度は把握が困難であり、本研究の限界である。アミロイドーシスは 28.5%に診断されていたが、血清アミロイド A の測定など、アミロイドーシス精査のための検査の際につけられた病名である可能性が推察され、実際のアミロイドーシスの合併率はこれより低いと推察

された。

#### <SLE/APS>

SLE の主要臓器病変であるループス腎炎は 38.5%で確定診断され、0-14 歳の小児で 69.9%と 15 歳以上の 38.1%と比較して高率であった。小児例では使用できる薬剤が限定されていることより、小児発症ループス腎炎の医療 UMN に焦点をあてさらに解析を進め、また他の検討による実態把握を行う必要性が確認された。

SLE における新規治療薬としては、ループス腎炎に対して MMF が 2015 年に、また既存治療で効果不十分な SLE に対してベリムマブが 2017 年（5 歳以上の小児には 2019 年）に承認された。また、ヒドロキシクロロキンは海外では古くより広く用いられていたが、本邦では 2015 年に皮膚エリテマトーデスと SLE に対して保険適用となっている。これらの薬剤の処方割合は、ヒドロキシクロロキシン 21.4%、MMF 12.0%、ベリムマブ 3.8%とそれほど高くはなかった。これらの薬剤の承認以前の発症例で既存治療で疾患活動性が安定している症例も含まれることから、本研究では困難であるが、新規発症例に限定した評価が必要と考えられた。

#### 受療医療機関と地域格差

本解析では、専門施設への受診した患者割合をも検討した。RA の 70.1%を除いた他疾患で専門施設の受診をしていることが明らかとなった。

小児リウマチ中核病院については、厚生労働科学研究「若年性特発性関節炎を主とした小児リウマチ性疾患の診断基準・重症度分類の標準化とエビデンスに基づいたガイドラインの策定に関する研究」班（課題番号：H27-難治等(難)-一般-029）の検討によりその偏在が報告されている。

また、厚生労働行政推進調査事業費補助金（免疫・アレルギー疾患政策研究事業）「我が国の関節リウマチ診療の標準化に関する臨床疫学研究」（H30-免疫-指定-002）

における「ナショナルデータベースを用いた関節リウマチ患者の診療実態に関する疫学研究」でも、各都道府県のリウマチ専門医数（人/都道府県面積 1000km<sup>2</sup>）を算出し、大都市に専門医が集中していることが示されている。

今回解析対象とした疾患のうち、とくに RA 以外については、専門医療機関の受診率が高いことより、医療の地域格差の存在が推察された。

治療薬に関する UMN はリウマチ内科医、小児リウマチ医ともに優先度が高いものとして挙げられている。疾患の重症度や医療費については本研究班の井上（祐）・川邊らが指定難病個票データや JMDC claim データベースを用いた解析を行っており、それらの解析結果と統合的にまとめる。（詳細は、アンメットニーズ検証を目的とした小児慢性特定疾病・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、アンメットニーズ検証を目的とした JMDC claim database による医療実態の把握に関する研究 1-30 歳未満の関節型若年生特発性関節炎・関節リウマチの比較検討の分担研究報告書を参照）。データベース解析によって裏付けられた UMN を明らかにし、課題を提起する予定である。

#### D. 結論

NDB を用いて代表的難治性・希少免疫疾患である RA/JIA、TAK、CAPS、SLE、APS において、とくに治療薬に優先度の高かった UMN に関連する医療実態を検証した。いずれにおいても、高額医薬品が高率に使用されている実態が明らかとなった。また、専門施設の高い受診率より、医療の地域格差が推察された。

#### 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

なし

3. その他

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