

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 祐三朗 千葉大学 大学院医学研究院総合医科学 特任講師
井上 永介 昭和大学 統括研究推進センター 教授
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

下条 直樹 千葉大学 予防医学センター 特任教授
光永 可奈子 千葉県こども病院 アレルギー・膠原病科 医員
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

研究要旨

各疾患研究班から提案された、若年性特発性関節炎 (JIA)・高安動脈炎 (TAK)・クリオピリン関連周期性症候群 (CAPS) におけるアンメットニーズ (UMN) 案を検証するために、2018年4月～2020年3月に提出された小児慢性特定疾病児童等データおよび指定難病患者データの解析をおこなった。

小児慢性特定疾病データは、データが集積された自治体が少なく、データ提供が不十分であり、解析不可能であった。

指定難病データを用いた若年成人322例のJIAの解析では、全てのJIAの病型において、85%以上の症例が何らかの生物学的疾患修飾性抗リウマチ薬 (bDMARDs) を使用していた。複数種類のbDMARDsの使用経験率は、リウマチ因子陽性多関節炎において最も高かった。3,290例のTAKの解析では、bDMARDsは新規発症例の17%で使用され、トシリズマブ皮下注射がその84%を占めていた。63例のCAPSの解析では、全体の78%がカナキヌマブを使用していた。

これらの結果から、JIA・TAK・CAPSのいずれにおいても、指定難病を申請した多くの症例において、bDMARDsなどの高額医薬品の使用がされている実態が明らかとなった。

なお、本解析結果は、厚生労働省が作成・公表している統計等とは異なっている。

A. 研究目的

本分担研究の目的は、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、データベース解析を用いて検討することである。

若年性特発性関節炎 (JIA)・高安動脈炎 (TAK)・クリオピリン関連周期性症候群 (CAPS) において、各疾患研究班から提案されたUMN案 (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) を検証するために、2018年4月～2020年3月に提出された小児慢

B. 研究方法

性特定疾病データおよび指定難病患者データの解析をおこなった。

C. 結果

【小児慢性特定疾病データ】

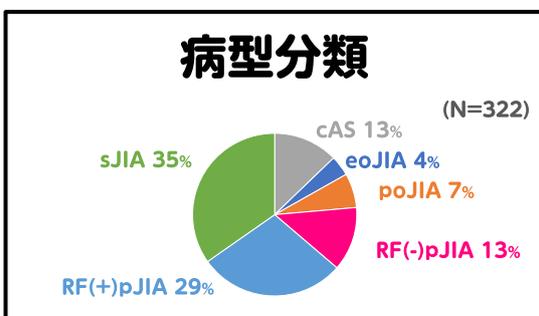
小児慢性特定疾病データは、データ集積された自治体が少なく、解析不可能であった。

【指定難病データ】

<JIA>

若年成人期の JIA 患者における UMN を検討するために、申請時年齢が 20 歳以上 30 歳未満の JIA(指定難病名：全身型 JIA・関節型 JIA・強直性脊椎炎)の指定難病データの解析をおこなった。

不適当な病型分類が記入された症例を除外したところ、322 例（全身型(sJIA)112 例，リウマチ因子陽性多関節炎(RF(+))pJIA)93 例，リウマチ因子陰性多関節炎(RF(-))pJIA)41 例，持続型少関節炎(poJIA)22 例，進展型少関節炎(eoJIA)13 例，小児期発症強直性脊椎炎(cAS)41 例)が解析対象となった。



病型の比率は、Narazaki らが報告した「小児リウマチ性疾患登録（レジストリ）研究 PRICURE」の JIA の病型比率と比較して（Narazaki H, et al. Mod Rheumatol. roac112, 2022.），sJIA が少なく cAS が多かった。また，sJIA と cAS では女性の割合が他の病型と比べて有意に少なかった。

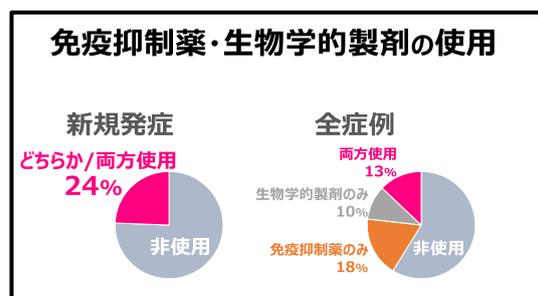
何らかの cDMARDs の使用経験は，sJIA の 85% 以上 および RF(+))pJIA・RF(-))pJIA・poJIA・eoJIA の 90%以上で認

めたが，cAS では約 60%に留まっていた。一方，何らかの bDMARDs の使用経験は全ての病型において 85%以上に認めていた。

申請時における bDMARDs の使用は，RF(+))pJIA で有意に多く，sJIA では有意に少なかった。複数種類の bDMARDs の使用経験は，RF(+))pJIA において最も多かった。

<TAK>

TAK は 3,290 例を解析対象とした。発症 1 年未満の新規発症例は 198 例であった。男女比は 1:7.3 と女性が多く，申請時年齢は 60-64 才の年齢区分が 9.8%，発症年齢は 20-24 才が 16.2%と最も多かった。



bDMARDs は新規発症例の 17%で使用され，トシリズマブ(TCZ)皮下注射(TCZsc)がその 84%を占めた。全症例では 24%に bDMARDs が使用され，その 71%が TCZsc であったが，TCZ 静注や他の bDMARDs を使用している症例も認められた。全症例の 66%が重症度Ⅲ～Ⅴ度と重度の臓器障害を認めていた。

<CAPS>

CAPS は 63 例を解析対象とした。男女比は 1:1.3 であった。症例数が少なく，年齢区分ごとの解析結果は公表不可能であった。全体の 78%がカナキマブを使用し，その 61%が著効，31%が有効と評価されていた。

D. 考察 E. 結論

本研究で対象としたのは 2018 および 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。

JIA・TAK・CAPS のいずれにおいても、bDMARDs などの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。

各疾患研究班から提案された UMN 案のなかでも治療薬に関する 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おり、高額医薬品の使用が医療費に与える影響については、本研究班の井上（永）・酒井・川邊らが、ナショナルデータベースや JMDC claim database を用いて解析を行っている（詳細は、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、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）。これらと本指定難病データの解析結果と統合し、データベース解析によって裏付けられた UMN を明らかし、課題を提起する予定である。

なお、本解析結果は、厚生労働省が作成・公表している統計等とは異なっている。

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

井上祐三朗, 酒井良子, 井上永介, 光永可奈子, 清水正樹, 杉原毅彦, 田中孝之, 松下雅和, 森雅亮, 吉藤元, 西小森隆太, 宮前多佳子 指定難病データを用いた関節型若年性特発性関節炎および高安動脈炎の医療実態の検討 第 67 回日本リウマチ学会総会・学術大会 発表予定

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