

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）
総合分担研究報告書

指定難病データを用いたベーチェット病医療受給者の臨床疫学像の把握(経過報告)

研究分担者: 黒澤美智子 所属: 順天堂大学医学部衛生学・公衆衛生学講座

研究要旨

平成 27(2015)年の難病法施行に伴い、臨床調査個人票データベースは新しい指定難病データベースとなり、指定難病ベーチェット病は認定基準に重症度が加わり、Stage II 以上が医療費助成の対象となった。また、更新データに症状の項目、治療法について複数の項目が追加された。対象疾患の臨床疫学像を確認することは難病研究班の方針を決定する上での基本情報であり、ガイドライン作成・改定時の必須情報である。本研究班で開始したレジストリーに資することも目的とする。指定難病ベーチェット病の臨床調査個人票データは 2019 年 9 月に初回の利用申請を行い 2020 年 10 月に 2015～17 年度のデータを入手した。初回申請データと過去に報告した結果を用いて、難病法施行前後の重症度(Stage)分布の変化、新規受給者の性別 4 主症状別の有症状割合の変化を報告し、2015 年以降に比較可能となった新規・更新別 4 主症状の有症状割合の比較では、口腔内アフタ性潰瘍、皮膚症状、外陰部潰瘍を有する割合は更新データの方がやや低く、眼症状を有する割合は新規と更新データに差は認められないこと等を報告した。新規データと更新データの有症状割合の差異は、治療効果の検討に用いることができる可能性があり、分析を継続するため、2022 年 8 月に 2015～22 年度データの利用申請を行い、2023 年 3 月に承諾された。2 回目の申請データの到着を待って分析を開始する。また、ベーチェット病 4 主症状の組み合わせ別の治療法、皮膚症状を有する症例に選択されている治療法や副症状についての分析も予定している。

A. 研究目的

難病の医療費自己負担軽減のために、申請時に提出される臨床調査個人票は平成 26 年までの特定疾患 56 疾患については厚労省でデータベース化されており、当班では以前より利用申請を行い、臨床疫学像を確認し報告してきた。平成 27(2015)年の難病法施行に伴い、臨床調査個人票データベースは新しい指定難病データベースとなり、指定難病ベーチェット病は認定基準に重症度が加わり、Stage II 以上が医療費助成の対象となった。また、更新データに症状の項目、治療法について複数の項目が追加され

た。

対象疾患の臨床疫学像を確認することは難病研究班の方針を決定する上での基本情報であり、ガイドライン作成・改定時の必須情報である。本研究班で開始したレジストリーに資することも目的とする。

B. 研究方法

指定難病ベーチェット病の臨床調査個人票データは 2019 年 9 月に初回の利用申請を行い 2020 年 10 月に 2015～17 年度のデータを入手した。過去に報告した臨床調査個人票分析結

果と入手したデータの比較から難病法施行前後の重症度(Stage)の変化、主症状割合の推移、および2015年度データから可能となった更新者の症状、皮膚の有症状割合について確認し昨年度と一昨年度に報告^{1,2)}した。当該データは使用期限までに返却済で、2022年8月に同データの2015～22年度データの利用申請を行い、2023年3月に承諾された。

(倫理面への配慮)

個人を識別できる情報(氏名、住所、電話番号など)については利用申請していない。本研究の実施計画は2022年9月27日、順天堂大学医学部医学系研究倫理等倫理委員会の承認を得た。(研究課題番号E22-0287)

C. 研究結果とD 考察

初回申請(2020年)で入手した2015～17年度の指定難病ベーチェット病データと過去に報告した結果等を用いて、難病法施行前後の重症度(Stage)分布の変化を確認し、報告している¹⁾。難病法施行後はStage Iの割合が減少し2017年に約半減していたが、Stage II～Vの割合は増加しており¹⁾、2017年以降のベーチェット病受給者数の減少はStage Iの減少によると思われた¹⁾。また、同データで新規受給者の性別・4主症状別の有症状割合の推移を難病法施行前後で確認し、眼症状の有症状割合は難病法施行後に上昇していること、外陰部潰瘍は難病法施行後、女性でやや減少傾向が認められることを報告した¹⁾。ベーチェット病の重症度Stage II以上は眼症状や特殊型ベーチェットを有する症例で、それらの症状を有さない症例が難病法施行後に減少し、ベーチェット病受給者全体で眼症状を持つ症例の割合が増加したと思われた¹⁾。2015年以降に比較可能となった新規データと更新データのベーチェット病4主症状の有症状割合を比較したところ、口腔内アフタ性潰瘍、皮膚症状、外陰部潰瘍を有す

る割合は更新データの方がやや低く、眼症状を有する割合は新規と更新データに差は認められないことも報告した¹⁾。これらの差異は、治療の効果等の検討に用いることができる可能性があると思われた。

指定難病データ利用申請にあたっては以下の書類を提出した。

1. 指定難病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申出書
2. 所属機関の「令和元年度指定難病データ及び小児慢性特定疾病児童等データ等を利用した研究に関する承認書」
3. 過去の実績資料
4. 研究班の「交付決定通知書」の写し
5. 指定難病患者データベースの利用に当たっての運用管理規程
6. 指定難病患者データベースの利用についての自己点検規程
7. 研究成果の公表様式(各疾患)
8. 提供希望項目(各疾患新規更新別に記載)
9. 所属組織の個人情報保護に関する規定(プライバシーポリシー、情報セキュリティポリシー等)
10. 所属機関に所属していることを証する書類(加えて、運転免許証、健康保険証、マイナンバーカードのうち2書類の写し)
11. 運用フロー図
12. リスク分析・対応表(作成)
13. 倫理審査研究計画書
14. 別添「1. 分析目的・必要性、2. 具体的な分析内容、3. 分析に必要な項目、4. その分析により期待される効果」

厚労省より「難病等患者データの提供に関する承諾通知書」が届いた後に、以下の書類を送付した。

1. 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利用に関する依頼書
2. 指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病

児童等データの利用に関する誓約書（所属長の捺印）。

2 回目の申請データの到着を待って分析を継続する。また、ベーチェット病 4 主症状の組み合わせ別の治療法、皮膚症状を有する症例に選択されている治療法や副症状についての分析も予定している。

E. 結論

平成 27(2015)年の難病法施行に伴い、臨床調査個人票データベースは新しい指定難病データベースとなり、指定難病ベーチェット病は認定基準に重症度が加わり、Stage II 以上が医療費助成の対象となった。また、更新データに症状の項目、治療法について複数の項目が追加された。対象疾患の臨床疫学像を確認することは難病研究班の方針を決定する上での基本情報であり、ガイドライン作成・改定時の必須情報である。本研究班で開始したレジストリーに資することも目的とする。指定難病ベーチェット病の臨床調査個人票データは 2019 年 9 月に初回の利用申請を行い 2020 年 10 月に 2015～17 年度のデータを入手した。初回申請データでは難病法施行前後の重症度(Stage)分布の変化、新規受給者の性別 4 主症状別の有症状割合の変化を報告し、2015 年以降に比較可能となった新規・更新別 4 主症状の有症状割合の比較では、口腔内アフタ性潰瘍、皮膚症状、外陰部潰瘍を有する割合は更新データの方がやや低く、眼症状を有する割合は新規と更新データに差は認められないこと等を報告した。新規データと更新データの有症状割合の差異は、治療効果の検討に用いることができる可能性があり、分析を継続するため、2022 年 8 月に 2015～22 年度データの利用申請を行い、2023 年 3 月に承諾された。2 回目の申請データの到着を待って分析を開始する。また、ベーチェット病 4 主症状の組み合わせ別の治療法、皮膚症状を有

する症例に選択されている治療法や副症状についての分析も予定している。

参考文献

- 1) ベーチェット病の臨床疫学像(指定難病データベース). 黒沢美智子. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業ベーチェット病に関する調査研究令和 3 年度総括・分担研究報告書 (研究代表者 岳野光洋),46-52, 2022.
- 2) ベーチェット病の皮膚有症状割合. 黒沢美智子. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業ベーチェット病に関する調査研究令和 4 年度総括・分担研究報告書 (研究代表者 岳野光洋), 2023.

F. 研究発表

- 1) 国内
口頭発表 0 件
原著論文による発表 0 件
それ以外 (レビュー等) の発表 1 件

1. 論文発表 著書

1. 黒澤美智子: 現場がエキスパートに聞いたいベーチェット病. 1 章ベーチェット病の臨床 2 日本における近年の疫学動向. 岳野光洋編著 日本医事新報社: 3-9, 2023.

- 2) 海外
口頭発表 0 件
原著論文による発表 0 件
それ以外 (レビュー等) の発表 0 件

G. 知的財産権の出願、登録状況

(予定を含む)

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし