

血栓性血小板減少性紫斑病の疫学調査

研究分担者：宮川義隆 埼玉医科大学 血液内科

研究要旨

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）の治療を受けている患者数は、特定医療費（指定難病）受給者証から 361 名（令和 3 年度）と判明した。有病率、発症年齢は欧米に近い。後天性 TTP の急性期と寛解期の再発予防に対する抗体医薬リツキシマブの適応拡大について、日本血液学会を通じて厚生労働省に適応拡大に関する要望書を提出した。

A. 研究目的

希少疾患で国の指定難病である血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）の疫学調査を行う。

B. 研究方法

特定医療費（指定難病）受給者証所持者数の調査、臨床個人調査票の疫学調査に必要なデータの精査、国際学会に参加して欧米の疫学調査を行う。

C. 研究結果

令和 3 年度の TTP 患者の特定医療費受給者証所持者は 361 名であった。欧米の罹患率から推定すると、国内患者数は約 400～500 名とされる。TTP と急性期と寛解期の再発予防に対するリツキシマブの適応拡大について、日本血液学会を通じて厚生労働省 未承認薬・適応外薬検討会議に審査依頼を行った。

D. 考察

国内の患者数は欧米の罹病率に近いと考えられる。来年度以降、臨床個人調査票を用いた疫学調査を行う。

E. 結論

超希少疾病に対する抗体薬リツキシマブの適応拡大と来年度の疫学調査に向けた情報収集を行った。

G. 研究発表

1. 論文発表

1. Broome CM, et al. Lancet 402, 1648, 2023
2. Roth A, et al. Blod Adv 7, 5890-5897, 2023
3. Miyakawa Y, et al. Int J Hematol 117, 366-377, 2023
4. Roth A, et al. Am J Hematol 1246-1253, 2023

2. 学会発表

日本血液学会、日本血栓止血学会、アメリカ血液学会

3. 一般向け講演会

なし

H. 知的財産権の出現・登録状況

なし