指定難病データを用いた稀少難治性皮膚疾患の臨床疫学像の把握(経過報告)

研究分担者 黒澤美智子 順天堂大学医学部衛生学・公衆衛生学講座(准教授)

研究要旨

2015年の難病法施行に伴い、新しい指定難病データベースが稼働した。難病法施行前後の臨床疫学像の変化や当研究班で実施された全国疫学調査結果との比較、および診療ガイドライン改訂時の基礎資料にすることを目的に当該データの利用申請を行い、初回の申請(2020年10月入手、2015~17年度データ)では、主に天疱瘡受給者の難病法施行前後の疫学像の変化を確認し、報告した。その結果から2017年以降のデータについても把握する必要があると考え、2022年8月に稀少難治性皮膚疾患(天疱瘡、表皮水疱症、膿疱性乾癬、先天性魚鱗癬、類天疱瘡)の2015~22年度指定難病データの利用申請を行い、2023年3月に承諾された。把握する臨床疫学像は各疾患の性・年齢分布、就労・就学、病型、重症度、症状、検査所見、治療、等である。利用申請したデータの到着を待って、分析を継続する。

天疱瘡ガイドライン記載する天疱瘡の疫学像については、当班が過去に実施した全国疫学調査や公表されている特定疾患治療研究事業報告書、指定難病の臨床調査個人票の分析結果を用いて、わが国の天疱瘡患者の性・年齢分布、病型、重症度を示し、海外における天疱瘡の有病率、発症率、病型等の文献をレビューする予定である。

A. 研究目的

難病の医療費の自己負担軽減のため申請時に提出される臨床調査個人票は平成26(2014)年までの特定疾患56疾患は厚労省で電子化されており、当班では以前より利用申請を行い、稀少難治性皮膚疾患の臨床疫学像を確認し、報告してきた。

2015年の難病法施行に伴い、新しい指定難病データベースが稼働し2019年度に利用申請の受付が始まった。

難病法施行前の臨床疫学像と難病法施行後の臨床疫学像の変化や当研究班で実施された全国疫学調査結果との比較等を行うこと、および診療ガイドライン改訂時の基礎資料にすることを目的に、2回目の利用申請を行った。

B. 研究方法

2019年9月に指定難病稀少難治性皮膚疾患データの初回利用申請を行い、2020年10月に2015~17年度のデータを入手した。天疱瘡受給者の性別年齢分布、病型別の割合、治療状況等を確認し、難病法施行前後の変化を比較し、重症度については2015~17年度の変化を確認し、昨年度報告した¹⁾。初回申請データは使用期限までに返却済である。

2022年8月に同データ(天疱瘡、表皮水疱症、膿疱性乾癬、先天性魚鱗癬、類天疱瘡)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。把握する臨床疫学像は各疾患の性・年齢分布、就労・就学、病型、重症度、症状、検査所見、治療、等である。

(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

初回申請時(2020年)に入手した2015~17年度指定難病データでは主に天疱瘡の分析を行った¹⁾。天疱瘡の受給者数は2014年に約6000人²⁾であったが、2015年の難病法施行に伴い、認定基準に重症度が加わり、受給者数の減少が予想されていた。しかし2017年末までは移行措置が取られていたため2016年度受給者数は5693例²⁾と大きな変化はなく、移行措置が終了した2017年度に受給者数3347例と大きく減少した²⁾。難病法施行前後の変化を確認することや新しく加わった項目について検討するためには2017年以降も引き続き把握する必要があると考え、2022年に2回目のデータ利用申請を行った。

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）。

本データの到着を待って、分析を継続する。

天疱瘡ガイドラインに記載する天疱瘡の疫学像については、当班が過去に実施した全国疫学調査や公表されている特定疾患治療研究事業報告書、指定難病の臨床調査個人票の分析結果を用いて、わが国の天疱瘡患者の性・年齢分布、病型、重症度を示し、海外における天疱瘡の有病率、発症率、病型等の文献をレビューする予定である。

E. 結論

2015年の難病法施行に伴い、新しい指定難病データベースが稼働し2019年度に利用申請の受付が始まった。難病法施行前の臨床疫学像と難病法施行後の臨床疫学像の変化や当研究班で実施された全国疫学調査結果との比較等を行うこと、および診療ガイドライン改訂時の基礎資料にすることを目的に、利用申請を行った。初回の申請(2020年10月入手、2015～17年度データ)では、主に天疱瘡受給者の難病法施行前後の疫学像の変化を確認し、報告した。その結果から2017年以降も引き続き把握する必要があると考え、2022年8月に稀少難治性皮膚疾患(天疱瘡、表皮水疱症、膿疱性乾癬、先天性魚鱗癬、類天疱瘡)の2015～22年度指定難病データの利用申請を行い、2023年3月に承

諾された。把握する臨床疫学像は各疾患の性・年齢分布、就労・就学、病型、重症度、症状、検査所見、治療、等である。利用申請したデータの到着を待って、分析を継続する。

天疱瘡ガイドライン記載する天疱瘡の疫学像については、当班が過去に実施した全国疫学調査や公表されている特定疾患治療研究事業報告書、指定難病の臨床調査個人票の分析結果を用いて、わが国の天疱瘡患者の性・年齢分布、病型、重症度を示し、海外における天疱瘡の有病率、発症率、病型等の文献をレビューする予定である。

参考文献

- 1) 天疱瘡の臨床調査個人票データを用いた疫学像. 黒澤美智子、山上淳、天谷雅行、池田志孝、秋山真志. 令和4年度厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業分担研究報告書;2023.
- 2) 特定医療費(指定難病)受給者証所持者数 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/5354>(2024年3月19日参照)

F. 健康危険情報

(分担研究報告書には記入せずに、総括研究報告書にまとめて記入)

G. 研究発表

1. 論文発表

1. Akiyama M、Takeichi T、Ikeda S、Ishiko A、**Kurosawa M**、Murota H、Shimomura Y、Suzuki T、Tamai K、Tanaka A、Terui T、Amagai M. Recent advances in clinical research on rare intractable hereditary skin diseases in Japan. **The Keio Journal of Medicine**. (in press)
2. 青山裕美、杉山聖子、山上淳、高橋勇人、岩田浩明、名嘉眞武国、池田志孝、石井文人、**黒澤美智子**、澤村大輔、鶴田大輔、天谷雅行、氏家英之. 類天疱瘡(後天性表皮水疱症を含む)診療ガイドライン補遺版. **日本皮膚科学会雑誌**; 133:189-193、2023.

H. 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