

指定難病データを用いた臨床疫学像の把握(経過報告)

黒澤美智子

(順天堂大学医学部 衛生学・公衆衛生学)

【研究要旨】

指定難病医療費受給申請時に提出される臨床調査個人票データは平成 27(2015)年以降、厚労省で入力されており、2019 年に利用申請の受付が開始された。指定難病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、難病研究班は各指定難病の認定基準、および臨床調査個人票の臨床項目の作成をしており、対象疾患の臨床調査個人票データを確認することは責務であると考え。また、対象疾患のガイドライン作成・改定時の有用な情報となる。全国の患者情報を分析し、その結果を診療に携わる医師や患者、難病対策を行う行政等に還元する意義は大きい。平成 26 年までの特定疾患 56 疾患の臨床調査個人票は厚労省で電子化されており、難病研究班から利用申請を行い、臨床疫学像の報告をしてきた。指定難病データベースを入手し、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等を目的に指定難病 6 疾患の利用申請を行い、2023 年 3 月に承諾された。指定難病データの到着を待って、分析を開始する。

A. 研究目的

本研究は指定難病ベーチェット病、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)受給者の臨床疫学像の把握を目的とする。

指定難病データは平成 27 年以降厚労省で入力され、2019 年度に利用申請の受付が始まった。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 年までの特定疾患 56 疾患は厚労省で電子化されており、難病研究班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。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。

B. 研究方法

2022 年 8 月に指定難病 6 疾患(ベーチェット病、天疱瘡、表皮水疱症、膿疱性乾癬、先天性魚鱗癬、類天疱瘡)のデータ利用申請を行った。

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。難病法施行前後の臨床疫学像の変化を確認し、研究班で過去に実施した全国疫学調査結果と比較する。

(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

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2023年3月28日付で「難病等患者データの提供に関する承諾通知書」が届き、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)。

指定難病データの到着を待って、分析を開始する。

D. 考察と E. 結論

指定難病医療費受給申請時に提出される臨床調査個人票データは平成27年以降厚労省で入力されており、2022年8月に利用申請を行った。難病研究班は各指定難病の認定基準、および臨床調査個人票の臨床項目の作成をしており、対象疾患の臨床調査個人票データを確認することは責務と考える。また、ガイドライン作成・改定時の有用な情報となる。全国の患者情報を分析し、その結果を診療に携わる医師や患者、難病対策を行う行政等に還元する意義は大きい。2023年3月に申請の承諾が得られ、指定難病データの到着を待って、分析を開始する。

F. 参考文献

なし

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*. 2023 Jun 29. doi: 10.2302/kjm.2023-0008-IR. Online ahead of print. PMID: 37380461.
- 2) Hama N, Sunaga Y, Ochiai H, Kokaze A, Watanabe H, Kurosawa M, Azukizawa H, Asada H, Watanabe Y, Yamaguchi Y, Aihara M, Mizukawa Y, Ohyama M, Hashizume H, Nakajima S, Nomura T, Kabashima K, Tohyama M, Hasegawa A, Takahashi H, Mieno H, Ueta M, Sotozono C, Niihara H, Morita E, Brüggem M, Feingold I, Jeschke M, Dodiuk-Gad R, Opiel E, French L, Chen W, Chung W, Chu C, Kang H, Walsh S, Ingen-Housz-Oro S, Nakamura K, Sueki H, Abe R. Development and validation of a novel score to predict mortality in Stevens-Johnson syndrome and toxic epidermal necrolysis: CRISTEN. *The Journal of Allergy and Clinical Immunology: In Practice*. 11; 3161-3168, 2023.
- 3) 青山裕美, 杉山聖子, 山上淳, 高橋勇人, 岩田浩明, 名嘉真武国, 池田志孝, 石井文人, 黒沢美智子, 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.
- 4) 黒澤美智子. 2 日本における近年の疫学動向. 現場がエキスパートに聞きたいベーチェット病: 岳野光洋編. *日本医事新報社*. 2-9, 2023.

2. 学会発表
なし

H. 知的所有権の取得状況

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし