

難病・小慢 合同委員会

R5.11.22

資料2

# 「匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報の提供に関する有識者会議」（11月10日開催）における検討状況について

# 難病・小慢データベースの法定化 (令和6年4月1日施行)

令和5年  
7月10日

第70回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策  
委員会・第1回社会保障審議会小児慢性特定疾  
病対策部会小児慢性特定疾病対策委員会

資料1

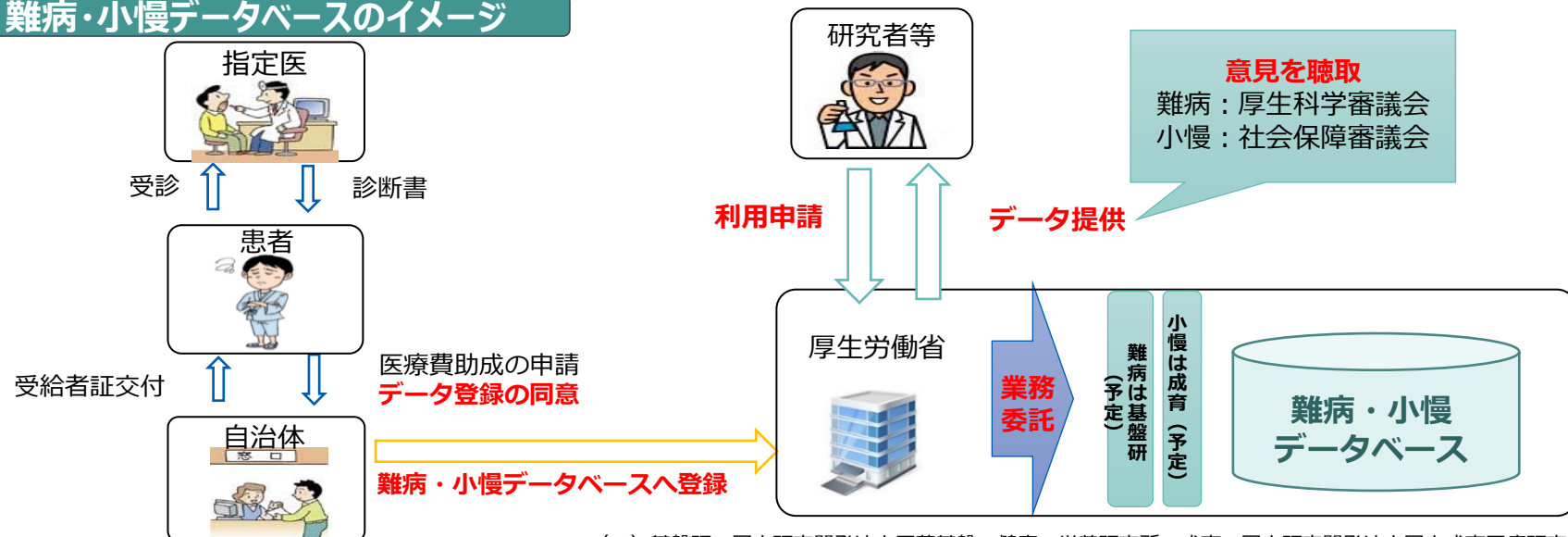
## 改正の概要

- 難病・小慢データベースの法的根拠が新設され、国による情報収集、患者等の同意を前提とした都道府県等の国への情報提供義務が規定された。
- また、安全管理措置、第三者提供ルール等の諸規定が新設され、他の公的データベースとの連結解析も可能とされた。
- 難病データベースについては、登録対象者を拡大し、軽症の指定難病患者もデータ登録が可能とされた。

## 今後の対応（案）

- 法定化により、新たに他の公的DBとの連結解析に対応する必要があるなど、新たにデータ提供に関するガイドラインを策定する必要があるため、データ提供に関する有識者会議を立ち上げてはどうか。
- 当該有識者会議においては、ガイドラインの他、研究成果の公表の在り方や、データの第三者提供に係る手数料の額、手数料を免除する対象者の範囲についても議論してはどうか。

## 難病・小慢データベースのイメージ



(※) 基盤研: 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、成育: 国立研究開発法人国立成育医療研究センター

# 匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報の提供に関する有識者会議

## 1. 目的

匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報の提供の在り方及び利活用に関し、専門的な観点から検討を行うことを目的として、厚生労働省健康・生活衛生局長が参集を求める有識者により「匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報の提供に関する有識者会議」を開催する。

## 2. 検討事項

- (1) データ提供に係る事務処理及び審査基準等を定めたガイドラインの策定に関する事項について
- (2) その他データ提供の実施及び情報の利活用に必要な事項について

## 3. 構成員

(五十音順、敬称略)

五十嵐 隆・国立研究開発法人国立成育医療研究センター理事長

神里 彩子・東京大学医科学研究所先端医療研究センター生命倫理研究分野准教授

野口 晴子・早稲田大学政治経済学術院教授

康永 秀生・東京大学大学院医学系研究科公共健康医学専攻臨床疫学・経済学教授

山野 嘉久・聖マリアンナ医科大学大学院先端医療開発学教授難病治療研究センター病因・病態解析部門部門長

◎山本 隆一・一般財団法人医療情報システム開発センター理事長

渡辺 弘司・公益社団法人日本医師会常任理事

## 4. 参考人 (第1回会議)

(五十音順、敬称略)

稲垣 治・元 日本製薬工業協会医薬品評価委員会運営委員会幹事

福島 慎吾・認定NPO法人難病のこども支援全国ネットワーク専務理事

森 幸子・一般社団法人日本難病・疾病団体協議会理事

山田 英・一般社団法人日本バイオテック協議会会長

渡邊 裕司・浜松医科大学理事・副学長

## 匿名データの第三者提供先・活用できる業務の範囲

現在	令和6年度以降
<p><b>&lt;提供対象者&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 原則、厚労省、地方公共団体、厚労省又は文科省が補助を行う研究事業の実施者のみであり、<u>製薬企業等の民間企業は提供不可</u></li> <li>➔ <u>過去に、製薬企業等に提供した実績はない</u></li> </ul> <p><b>&lt;活用可能な業務の範囲&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 厚労省又は文科省が補助を行う研究事業の実施者は、<u>難病等患者データを用いて研究を行う場合等に限定</u></li> <li>➔ <u>結果的に、患者疫学情報の把握にのみ活用（患者数、発病年齢、男女比、症状の分布、診療実態など）</u></li> </ul>	<p><b>&lt;提供対象者&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>製薬企業等の民間企業に対しても、提供可能</u></li> </ul> <p><b>&lt;活用可能な業務の範囲&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>難病・小慢の患者に対する医療・福祉の分野の研究開発に資する分析等に活用可能（特定の商品・役務の広告又は宣伝に利用するために行うものを除く。）</u></li> <li>➔ <u>例えば、創薬において、開発したい治療薬の対象患者の概要把握（治験の実行可能性等）、治験で使用するアウトカム指標の検討などに活用可能</u></li> </ul>

## 他のDBとの連結解析

現在	令和6年度以降
<ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>難病DB・小慢DBの連結・提供のみ可能</u></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>他の公的DBとの連結・提供することも可能</u></li> </ul>

製薬企業の研究開発においては、主に、①特定の患者群に係る疫学情報の整理・把握や、②個別の患者の新たなデータの収集・患者へのアプローチに向けた情報の把握・分析、などに活用できる可能性がある。

活用の目的	期待される活用例
<p>①特定の患者群に係る疫学情報の整理・把握 (Retrospective)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 開発したい治療薬の対象疾患の全体患者数や状態別患者数等により、<b>市場規模、治験の実行可能性を評価できる可能性</b>がある。</li> <li>○ 患者全体の疾患活動性スコアや重症度分類の経時的変化をまとめた情報等により、<b>対象疾患の自然歴の全体的な傾向を把握できる可能性</b>がある。</li> </ul> <hr/> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 患者の年齢層や性別、症状、遺伝子型等の区分ごとの疾患活動性スコアや重症度分類の経時的変化の情報等により、<b>対象疾患の詳細な自然歴を把握できる可能性</b>がある。</li> <li>○ 個別の患者の症状スコア、疾患活動性スコア、重症度分類等の治療効果のアウトカム指標になり得る実際のデータの把握や、各データの平均値や標準偏差等の各種統計量を評価すること等により、<b>治験における適切なアウトカム指標（サロゲートエンドポイントを含む）の設定、必要サンプルサイズの算出に利用できる可能性</b>がある。</li> <li>○ 患者個々の背景情報とその後の経過等を参照することで、<b>治験へのエントリーの適格基準の適切な設定に役立てられる可能性</b>がある。</li> </ul>
<p>②個別の患者の新たなデータの収集・患者へのアプローチに向けた情報の把握・分析 (Prospective)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 対象疾患を多く診断・治療している医療機関の分布状況等を把握・分析することにより、<b>患者細胞・組織等の研究サンプルの採取依頼等を行う際や、医療機関に対する治験への参入依頼や実施している治験の情報提供を行う際の参考データとして有用である可能性</b>がある。</li> </ul>

改正法により、匿名データ利用者に対しては、その情報の取扱いに関する義務等が課されることとなるが、義務の適切な履行を図るため、厚生労働大臣による立入検査や是正命令に関する必要な規定が整備されている。また、匿名データに係る不適切な利用等に対しては、必要な罰則規定が設けられている。

匿名データ利用の際の義務等	違反した場合の対応
<p><b>&lt;照合等の禁止&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 本人を識別する目的での他の情報との照合等の禁止 (難病法第27条の3、児福法第21条の4の3)</li></ul>	<p><b>&lt;立入検査等&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 報告・帳簿書類の提出命令、義務違反に係る立入検査、是正命令 (難病法第27条の7・第27条の8、 児福法第21条の4の7・第21条の4の8)</li></ul> <p><b>&lt;罰則&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 匿名データの内容をみだりに他人に知らせ又は不当な目的に使用した者・厚労大臣による是正命令に違反した者は1年以下の拘禁刑若しくは50万円以下の罰金に処し又はこれを併科する(難病法第45条、児福法第60条の3)</li><li>○ 厚労大臣による報告の求めや立入検査等に対し、適切な対応を行わない者は50万円以下の罰金に処する(難病法第46条、児福法第61条の5)</li></ul>
<p><b>&lt;消去&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 利用する必要がなくなった場合の情報の消去 (難病法第27条の4、児福法第21条の4の4)</li></ul>	
<p><b>&lt;安全管理措置&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 情報の漏洩等の防止のための安全管理措置 (難病法第27条の5、児福法第21条の4の5)</li></ul>	
<p><b>&lt;不当利用等の禁止&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 知り得た匿名データの内容をみだりに他人に知らせること又は不当な目的での利用することの禁止 (難病法第27条の6、児福法第21条の4の6)</li></ul>	



## 現状・経緯

- 現在の難病DB・小慢DBは予算事業により実施しており、データを第三者提供する場合には、あらかじめ、「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提供に関するワーキンググループ」において「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提供に関するガイドライン」に基づき審査を行った上で提供している。
  - 「難病・小慢対策の見直しに関する意見書」（令和3年7月）における、
    - ・ 指定難病患者DB及び小児慢性特定疾病児童等DBについて法律上の規定を整備し、収集・利用目的・第三者提供のルール等を明確に定めるべきである。その際には、希少な疾病である指定難病の特性に配慮しつつ、既に法律上に規定が設けられているNDB等のルールを参考にして、所要の措置を講ずるべきである
    - ・ 他の公的DBの取扱いや、より良い医療を患者に提供する観点から、指定難病患者DB及び小児慢性特定疾病児童等DBについても、民間事業者を含む幅広い主体へのデータ提供を認めることとしつつ、適切にデータが利活用されるよう、個々の事案ごとに審査会で、データ提供の可否や、提供するデータの内容を厳正に審査の上、判断することとすることが適当である
- などを踏まえ、改正難病法・改正児福法の規定が整備され、令和6年4月に施行されることとなっている。

## 検討における基本的な方向性

- 改正難病法・改正児童福祉法の施行に向けて、政省令や第三者提供の手続等の運用に関するガイドラインを策定することが必要。
- 政省令やガイドラインの検討の基本的な方向性としては、意見書の内容を踏まえ、現行の難病DB・小慢DBにおける運用をベースとしつつ、NDBの規定・運用を参考として行う。

## 1. データベースへの情報の格納

- 都道府県は、難病患者等の同意を得た上で指定難病の病名等のデータを厚労大臣に対して提供しなければならない。

### < 論点1：DBの格納情報、DB登録の同意取得の対象者・同意取得の方法、厚労大臣への提供方法 >

- DBに格納される情報は、現行DBと同様に、臨床調査個人票（難病）・医療意見書（小慢）の情報としてはどうか。
- 研究利用に関する本人同意は、現行DBと同様に、本人の同意を取得し、患者の病状の程度や治療の状況等から本人の同意を得ることが困難な場合においては患者の保護者などからの同意でも可能とし、同意を得る方法は書面としてはどうか。
- 都道府県から厚労大臣への提出は、現行DBと同様に、オンライン、書面、光ディスク等の電磁的記録としてはどうか。

## 2. 匿名データの第三者提供

- 厚労大臣は、難病DB・小慢DBの情報について匿名加工を行い、相当の公益性を有すると認められる業務に活用する第三者に対して提供することができる。

### < 論点2：匿名加工の基準、匿名データの提供手続き >

- 匿名加工の基準は、NDBと同様に、本人を識別することができる記述等の削除などとしてはどうか。
- 匿名データ提供手続きは、現行DB・NDBと同様に、氏名や利用目的などの必要事項の申出を行うなどとしてはどうか。

### < 論点3：匿名データの第三者提供先となる民間事業者等の範囲、活用できる業務の範囲 >

- 民間事業者等の範囲は、NDBと同様に、民間事業者又は補助金を充てて相当の公益性を有すると認められる業務を行う個人であって、統計法など関係法令に違反した者などの欠格事由に該当しない者としてはどうか。
- 民間事業者等が活用できる業務の範囲は、難病・小慢患者に対する医療・福祉分野の研究開発に資する分析など相当の公益性を有すると認められる業務として法律上記載されている業務等としてはどうか。

- 難病DBや小慢DBの匿名データについて、他のDBと連結して提供することができる。

### < 論点4：連結解析の対象となる情報 >

- 令和6年4月からは難病DBは小慢DBと、小慢DBは難病DBと連結・提供し、他の公的DBとの連結解析は、被保険者番号の履歴を活用した連結をするため、その準備状況を踏まえ検討することとしてはどうか。



## 2. 匿名データの第三者提供（続き）

- 厚労大臣は、難病や小慢の治療方法などの調査・研究や匿名データの利用・提供に係る事務を医薬基盤・健康・栄養研究所や国立成育医療研究センター等に委託することができる。

### < 論点5：国の匿名データの利用・提供等に関する事務の委託先 >

- 基盤研や成育医療センターのほか、現行DB・NDBと同様に、支払基金、国保連、事務を適切に行える者としてはどうか。

- 難病DB・小慢DBの匿名データの提供に関し、難病は厚生科学審議会、小慢は社会保障審議会の意見をあらかじめ聴く。

### < 論点6：匿名データの提供に関する意見聴取の場 >

- NDBと同様に、厚科審疾病対策部会と社保審小慢部会に匿名情報提供に関する専門委員会を設置し審議してはどうか。

## 3. 匿名データ利用者の義務

- 匿名データの利用者に対して安全管理の措置を講ずることを義務付ける。

### < 論点7：匿名データの安全管理措置 >

- 現行DB・NDBと同様に、組織的な安全管理措置（情報システム運用責任者の設置・担当者の限定等）などとしてはどうか。

- 匿名データの利用者は実費相当の手数料を納める。

### < 論点8：匿名データの提供に関する手数料の設定方法 >

- 手数料は、NDBと同様に、人件費等を踏まえた時間単位の金額に作業に要した時間を乗じて得た額としてはどうか。
- 手数料免除の対象は、NDBと同様に、国の行政機関、地方公共団体、科研費等の補助金の提供を受けて公益性のある調査研究事業を行う者のほか、これらの者が共同研究を行う場合や委託事業者としてはどうか。