

指定難病患者データベース及び
小児慢性特定疾病児童等データベース
の課題と対応について

過去の難病及び小児慢性特定疾病のデータベースの課題

過去のデータベースのデータ利活用の件数が少ない点について以下の原因が考えられる。

- ▶ 臨個票のデータを自治体の事務担当者が入力しており、医学的な見地からの確認がされず、低い精度のデータが登録されていたという懸念や、自治体により入力状況に差があり、登録されるデータに偏りがあったため、データの信頼性の観点から研究利用へ結びつかなかった可能性がある。
- ▶ データの利用方法について研究者に対して理解しやすい形で公表・周知されていなかった可能性がある。
- ▶ 経年での分析や臨床研究で活用できていなかったため、単年での疫学的な分析に限られていた。



過去のデータベースの課題に対する現行のデータベースでの対応

- ▶ 現行のデータベースでは、OCRによる読み込みを導入し、入力したデータについて、医学的な見地からその正確性を医師等が確認し、研究利用が可能となる精度を確保することとした。
- ▶ ガイドラインの作成後、ホームページ等で利活用方法、研究成果について情報を発信し、広く研究者へ情報提供することを検討する。
- ▶ 同意書を見直すことで、経年での分析や臨床研究で活用できるように検討する。

指定難病及び小児慢性特定疾病DBの現行の課題

- 難病法施行後に構築されたデータベースをより良いものとするための議論を行う上で、今後検討が必要と考えられる課題と対応方針について、合同委員会等のご指摘を踏まえ、以下の通り整理を行った。
- また、本有識者会議においてご議論頂きたい主な点に色づけし以下に示した。

課題	合同委員会等でのご指摘等	対応方針（案）
悉皆性	<ul style="list-style-type: none"> データ登録は、申請を行い、かつデータ登録について同意した者が対象（申請の結果、助成を受けられない者も対象）となるため、対象疾患と診断された患者全員が登録されるわけではない。（医療費助成の申請を行わない者や他の制度により助成が行われている者の情報は登録されない。） 	<ul style="list-style-type: none"> 制度の説明や研究を行う上での留意事項について情報提供を行うことを検討 公平かつ安定的な医療費助成を適正に行いつつ、研究への利活用に資するデータの収集を担保するため、今後の制度の議論の中で中長期的に検討
情報の品質・内容	<ul style="list-style-type: none"> 医療費助成に紐付いているため、本来の状態より重症とされる傾向が強くなる恐れがある。 上記「悉皆性」にあるような理由から、対象疾患と診断された患者全員が登録される仕組みとなっていないため、登録されているデータに偏りがある可能性がある。 重症度基準については、「適切な医学的管理の下で治療が行われている状態であって、直近6ヶ月間で最も悪い状態を医師が判断することとする」と記載されており、受診日のデータや患者の現在の状態と必ずしも一致するデータではない可能性がある。 臨個票の研究に関する記載項目が多く、医師の負担が大きいため、最新のデータが記載されない恐れがある。 	
	<ul style="list-style-type: none"> OCRで読み取りを行った際に、読み取れない場合や誤った読み取りが生じる可能性がある。 	<ul style="list-style-type: none"> 読み取りの精度について確認の上、その情報を提供することにより対応を検討しつつ、更なる精度の向上については、今後の制度の議論の中で中長期的に検討
経年的な分析	<ul style="list-style-type: none"> 指定難病患者DBについては現状の同意書には経年的な分析に用いることを明示しておらず、経年的な分析が困難となっている。 	<ul style="list-style-type: none"> 同意書の見直しにより対応を検討
	<ul style="list-style-type: none"> 都道府県等ごとに受給者証番号が付与されるため、転居等の理由により番号が変更となった場合には、県をまたいで同一の患者から申請があった場合には突合ができない。 	<ul style="list-style-type: none"> 公平かつ安定的な医療費助成を適正に行いつつ、研究への利活用に資するデータの収集を担保するため、今後の制度の検討の中で中長期的に検討
利活用までの期間	<ul style="list-style-type: none"> 臨個票や医療意見書は自治体から紙で送付されており、また、データ入力に時間がかかるため、患者の同意を得てから当該データが利活用されるまでには2年間ほどタイムラグがあると考えられる。 	