

## 小児期発症全身性強皮症、限局性強皮症の全国疫学調査

### 1. 研究の対象

2016年1月1日～2020年12月31日に、対象施設を受診した18歳未満で発症した全ての年齢の全身性強皮症、限局性強皮症の通院・入院患者さん（初診、再診は問わない）が対象になります。調査対象診療科は、小児科、皮膚科、内科（膠原病内科、リウマチ内科）で、全国病院データをもとに病床数により層別化し、200床以上の病院層を対象とします。疾患の特殊性より、199床以下の病院層は調査対象外です。

以下の条件（基準）を満たす患者さんが対象になります。

- ① 性別は問わない
- ② 現在の年齢は問わない
- ③ 18歳未満で発症した全ての年齢の全身性強皮症、限局性強皮症の方  
以下の条件（基準）に当てはまる患者さんは研究に参加できません。
  - ① 登録に同意頂けない方（担当医師に申し出て下さい）
  - ② 研究責任者が不相当と判断した方以上の項目を含め、担当医師が総合的に判断して参加可能かを判断します。

### 2. 研究目的・方法

全身性強皮症は皮膚硬化および内臓諸臓器の線維化を特徴とする膠原病で、背景には免疫異常、線維芽細胞異常、血管障害があると考えられています。30～50代の女性に好発し、小児期発症例は稀とされていますが、実際には本邦小児での疫学的データは乏しく、発症頻度や臨床像、予後も明らかではありません。

また限局性強皮症は、限局した領域の皮膚および皮下脂肪織の線維化と萎縮を特徴とする疾患で、全身性強皮症とは病態が異なります。深部軟部組織や骨、関節にまで病変が及ぶため、関節拘縮による機能障害を来すほか、成長期に罹患することで、患側の骨の成長障害により健側との脚長差が生じるなど、小児特有の問題が存在します。

本研究では両疾患の本邦小児期発症例の頻度や臨床像、治療内容、予後を明らかにすることを目的とし、結果をもとに小児期発症強皮症患者に対する適切な治療選択や管理方針の確立と予後の改善を目指します。

### 3. 研究に用いる情報の種類

診療の過程で取得された①患者背景（年齢、生年月日、性別、既往歴、家族歴、居住都道府県）、②小児慢性特定疾患・指定難病承認の有無、③病型、④発症日、診断日、⑤臨床症状、所見、臓器障害、合併症、⑥検査所見（血液検査、尿検査、血圧、心電図、心エコー、心臓カテーテル検査、呼吸機能検査、消化管内視鏡検査、脳波）、⑦画像所見（単純 X 線、CT、MRI）、重症度、病変分布（限局性強皮症のみ）、⑧治療内容・反応性、⑨転帰についての情報を収集する。

#### 4. 外部への情報の提供

診療の過程で取得された情報はデータマネジメント担当施設およびに統計解析などを行う研究施設に一括して収集されます。なお、研究成果は学会や雑誌等で発表されますが、個人を識別できる情報は削除します。また、取り扱う情報は厳密に管理し、漏洩することはありません。

#### 5. 研究組織

##### 1. 研究代表施設および研究統括者

大阪大学大学院医学系研究科 皮膚科学教室 藤本学

##### 2. 共同研究施設等およびその研究代表者

東京大学医学部附属病院皮膚科 浅野善英

東京女子医科大学医学部膠原病リウマチ科 川口鎮司

東京女子医科大学病院膠原病リウマチ痛風センター・小児リウマチ科 宮前多佳子

金沢大学医薬保健研究域医学系皮膚分子病態学 濱口儒人

東京医科歯科大学・大学院医歯学総合研究科 清水正樹

新潟大学小児科 金子詩子

#### 6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。

ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

また、情報が当該研究に用いられることについて患者さんもしくは患者さんの代理人の方にご了承いただけない場合には研究対象としませんので、下記の連絡先までお申出ください。その場合でも患者さんに不利益が生じることはありません。

照会先および研究への利用を拒否する場合の連絡先:

大阪府吹田市山田丘 2-2

連絡先: 06-6879-3031

大阪大学大学院医学系研究科 皮膚科学講座 植田 郁子

研究責任者・研究代表者:

大阪大学大学院医学系研究科 皮膚科学講座 藤本 学