

若年性皮膚筋炎における JAK 阻害薬の国内使用状況についての 多施設共同研究

研究・実務責任者 所属 リウマチ科 職名 医長
氏名 水田 麻雄
連絡先電話番号 078-945-7300

このたび当院では、上記のご病気で入院・通院されていた患者さんの診療情報を用いた下記の研究を実施いたしますので、ご協力をお願いいたします。この研究を実施することによる患者さんへの新たな負担は一切ありません。また患者さんのプライバシー保護については最善を尽くします。本研究への協力を望まれない患者さんは、その旨、水田までご連絡をお願いします。

1 対象となる方

2013 年 8 月から 2024 年 12 月の間に当院に受診歴のある若年性皮膚筋炎 (JDM)
選択基準をすべて満たし、かつ除外基準のいずれにも該当しないもの

2 研究課題名

若年性皮膚筋炎における JAK 阻害薬の国内使用状況についての多施設共同研究

3 研究実施機関

研究代表：東京都立小児総合医療センター腎臓・リウマチ膠原病科
研究分担：兵庫県立こども病院リウマチ科

4 本研究の意義、目的、方法

若年性特発性炎症性筋疾患 (JIIM) は、小児に皮膚や筋、主要臓器の炎症や血管炎が生じる慢性自己免疫性疾患です。そのうち皮膚症状を伴うものを若年性皮膚筋炎 (JDM) といい、JIIM の 90% 以上を占めます^{1, 2}。JDM の臨床病型は幅広く、特定の筋炎関連抗体や筋炎特異抗体が合併症や予後に関連しています³。治療はステロイドやカルシニューリン阻害薬、アザチオプリン、免疫グロブリンなどを用いますが、近年、難治性 JDM に対する JAK 阻害薬の有用性が報告されています⁴。JAK 阻害薬はインターフェロン経路を標的とした薬剤であり、15 文献、61 例の JDM を対象としたレビューでは、筋症状、皮膚症状、間質性肺炎いずれも改善したことを示していますが、日本人を対象とした研究は含まれていません⁵。国内からは、抗 MDA5 抗体陽性 JDM の 2 例に対しトファシチニブを使用した報告がありますが⁶、他の筋炎関連抗体や筋炎特異抗体を対象とした報告はありません。

そこで本研究では、JDM における国内での JAK 阻害薬の使用状況を調査することを目的としています。

5 協力をお願いする内容

性別、人種、生年月、JDM の診断年月、診断時の症状と所見（発熱、体重減少、易疲労感、腹痛、関節痛、関節炎、嚥下困難、筋力低下、筋痛、ヘリオトロープ疹、ゴットロン徴候、頬部紅斑、皮膚潰瘍、爪上皮毛細血管異常、浮腫、石灰化、間質性肺炎）、既往症、薬剤使用歴（ステロイド、ステロイドパルス、シクロホスファミド、免疫グロブリン、リツキシマブ、アバタセプト、シクロスポリン、タクロリムス、アザチオプリン、メトトレキサート、ミコフェノール酸モフェチル使用の有無）、血漿交換療法の有無、検出されている筋炎特異抗体または筋炎関連抗体、筋炎特異抗体が抗MDA5 抗体の場合その抗体価、筋生検実施の有無、有の場合は生検所見(Perifascicular atrophy、Mx A 発現、毛細血管への MAC 沈着)、Childhood Myositis Assessment Scale (CMAS) の情報を使用して頂きます。

また JAK 阻害薬の導入理由と、治療開始時、開始 2 週間後、1/3/6/12/24 か月後の身長体重、血算、AST、ALT、LDH、CK、フェリチン、アルドラーゼ、CRP、赤沈、vWF 抗原定量または vWF 活性、D ダイマー、KL-6、筋炎特異抗体が抗MDA5 抗体の場合その抗体価、薬剤投与の有無や服薬状況、副作用、胸部 CT、MRI、CMAM の結果を収集します。

6 本研究の実施期間

登録期間：臨床研究等倫理審査委員会承認後～2030 年 3 月まで

7 プライバシーの保護について

- 1) 本研究で取り扱う患者さんの個人情報、患者番号のみです。その他の個人情報（住所、電話番号など）は一切取り扱いません。
- 2) 本研究で取り扱う患者さんの診療情報は、個人情報をすべて削除し、第三者にはどなたのものかわからないデータ（匿名化データ）として使用します。
- 3) 患者さんの個人情報と匿名化データを結びつける情報（連結情報）は、本研究の個人情報管理者が研究終了まで厳重に管理し、研究の実施に必要な場合のみに参照します。また、研究終了時に完全に抹消します。

8 お問い合わせ

本研究は患児への侵襲的な手技がなく、診療録を使った情報を使用するため、本研究に関する情報を公表することで同意を得たこととします。同意の撤回の希望がある方は以下までご連絡ください。またこの研究に関しての質問や確認のご依頼も、下記へご連絡下さい。

リウマチ科 医長 水田 麻雄 連絡先電話番号 078-945-7300（平日 9：00-17：00）

以上