

小児慢性特定疾患
登録・管理システム
Ver4.0
操作説明書

初版：平成 18 年 8 月 20 日

連絡先：

■ 〒157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1
国立成育医療センター研究所
成育政策科学研究部
加藤忠明

TEL:03-3416-0181(代)
FAX:03-3417-2694

URL:<http://www.nch.go.jp/policy/index.htm>

■ 〒106-8580 東京都港区南麻布 5-6-8
日本子ども家庭総合研究所
母子保健研究部
斉藤進

TEL:03-3473-8311(代)
FAX:03-3473-8408

URL:<http://www.aiiku.or.jp/>
mail to:syoinfo@aiiku.or.jp

■ 〒160-0023 東京都新宿区西新宿 7-6-4
(株)エヌアイデイ

A 小児慢性特定疾患治療研究事業について

1

事業の概要

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

目的、法的根拠、実施主体

慢性疾患にかかっていることにより長期にわたり療養を必要とする児童らの健全な育成を図るため、当該疾患の治療方法に関する研究等に資する医療の給付その他の事業を行うことを目的としている。

従来は法的根拠がなかったが¹⁾、現在は児童福祉法第21条の9の2の規定に基づく事業である。

実施主体は、都道府県、指定都市および中核市である。

対象疾患群

従来の「先天性代謝異常」疾患群に区分されていた消化器疾患(胆道系疾患を含む)に新たな疾患が追加され、「慢性消化器疾患」群が創設されたので、現在は11疾患群に区分されている。

また、「ぜんそく」疾患群に新たな疾患が追加され、現在は「慢性呼吸器疾患」群と名称が変更されている。そして、「血友病等血液疾患」には免疫疾患などを含んでいるので、「血友病等血液・免疫疾患」群となっている。

対象疾患および対象基準

対象疾患数は、従来の課長通知の488疾患から¹⁾、現在は大臣告示に基づく514疾患に増えている。

対象者の認定基準は、今日の医学的知見に基づいて、慢性に経過する疾患であるか、生命を長期に脅かす疾患であるか、症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾患であるか、長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾患であるか、などを考慮して決められている。

今後も、医学の進歩や医療現場での状況を踏まえて、若干の追加修正が予想されるので、対象疾患お

よび対象基準の詳細は、以下のホームページを参照されたい。

<http://www.nch.go.jp/policy/hayamihyouhayamihyoumokuji.htm>

対象年齢と通院拡大

従来、対象年齢が18歳未満の疾患と20歳未満の疾患が存在したが、現在ではすべての疾患において、新規認定は18歳未満、継続認定は20歳未満となっている。また従来、1か月以上の入院のみ対象としていた疾患群が存在したが、現在ではすべての疾患群において、入通院とも対象となっている。

福祉サービス

小児慢性疾患児養育経験者などによる相談事業、また、患者に対する日常生活用具の給付を行う福祉サービスを実施している(A6福祉サービスの項を参照)。

一部負担額

他の公費負担医療との均衡や子育て家庭の家計への配慮、本事業として初めて費用徴収を導入することなどを総合的に勘案して、階層区分による負担限度額が設定されている。ただし、低所得者に配慮して市町村税非課税世帯、また重症患児(A5重症患児認定基準の項を参照)は負担が免除されている。そして、医療機関、地方公共団体の事務負担軽減なども考慮して、費用徴収の階層区分は簡素化されている。詳細は、以下のホームページを参照されたい。

<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui8.htm>

資料

1) 厚生省児童家庭局母子保健課監修：小児慢性特定疾患早見表。平成10年度版。社会保険研究所、1998

2

事業の経過

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

設立当初

小児慢性特定疾患治療研究事業(以下、小慢事業)は、小児慢性疾患のうち特定の疾患について、研究を推進し、その医療の確立と普及を図り、併せて患者家族の医療費の負担を軽減する事業であり、1974年に整備された¹⁾。それ以前から実施されていた事業、すなわち1968年の「先天性代謝異常児の医療給付について」、1971年の「小児ガン治療研究事業について」、1972年の「児童の慢性腎炎・ネフローゼ及びぜんそくの治療研究事業について」を統合、さらに他の対象疾患を拡大するとともに九つの疾患群にまとめられ整備された。

1974年以降も対象疾患の追加、一部の疾患では入院から通院への拡大、対象年齢の18歳未満から20歳未満への延長が行われた。そして、1990年には神経・筋疾患が対象疾患群として追加され、10疾患群となった。しかし、その間、実質的には医療費助成のみで、研究の推進は必ずしも図られなかった。

全国的な登録開始

小慢事業での医療費助成は、1995(平成7)年度より患児(保護者)の申請で、保健所を窓口として行われることとなった。そして、1998(平成10)年度にその登録様式が全国的に統一された。すなわち、申請書に添付される医療意見書は、全国的にほぼ同様の書式となり、その内容をプライバシー保護に十分配慮しながら、コンピュータ入力・集計して登録・管理する方式になった²⁾。そのコンピュータ入力・集計するソフトを、厚生省(当時)は全国の実施主体へ1999年2月に配布した³⁾。

その後、そのソフトは2回ほど改良された。2003年6月全国配布版では、対象疾患のみ入力可能とし、本来ありえない内容を入力すると警告表示を出し、また、医療機関名も入力できるソフトとなった⁴⁾。

法制化

小慢事業の設立当初に比べ現在では、医療技術の向上に伴って、患者の生命の危機は防ぎやすくなった反面、その療養が長期化し、長期間、病気と闘っている子どもとその家族の心身面での負担は増してきた。

また、従来は厚生事務次官通知に基づく補助金事業であったため、安定的な制度とすることが望まれていた。このような小慢事業を取り巻く状況を踏まえ、小慢事業を法律上位置づける「児童福祉法」一部改正案が国会で2004(平成16)年11月26日に成立、同年12月3日に公布され、厚生労働大臣告示が2005(平成17)年2月10日の官報に載った。同年4月1日以降は、法的根拠に基づく安定的な制度となっている。

事業の法制化に伴う見直しの基本的考え方

小慢事業の見直しに関する基本的考え方は以下の通りであった⁵⁾。

従来の小慢事業の対象疾患を基本として、今日の医学的知見に基づき、必要最小限の見直しを行った。

対象疾患については、事業の趣旨に鑑みて、慢性疾患であることを前提として、症状の重さ、治療にかかる費用ならびに他の公費負担医療の適応状況などを考慮し、予算の範囲内で対象疾患の見直しを行った。

基本的にはICD-10(第10回修正国際疾病分類)コードや疾患名を使用し、現在は使用されていない疾患名や不正確な不適切病名を整理するとともに、対象疾患を適切な疾患群に分類して、医学的に整合性を図った。ただし、悪性新生物のみICD-O(第3版国際疾病分類-腫瘍学)コードによった。

対象疾患ごとに認定基準を厚生労働大臣告示で示した。

文 献

- 1) 厚生省児童家庭局母子保健課監修：小児慢性特定疾患早見表．平成10年度版，社会保険研究所，1998
- 2) 加藤忠明：小児慢性特定疾患の全国登録状況．小児科2000；41(8)：1487-1493
- 3) 平成10年度厚生科学研究報告書：母子保健情報の登録・評価に関する研究(主任研究者 柳澤正義)，1999
- 4) 平成14年度厚生労働科学研究報告書：小児慢性特定疾患治療研究事業の登録・管理・評価に関する研究(主任研究者 加藤忠明)，2003
- 5) 加藤忠明：小児慢性特定疾患治療研究事業とその制度改正．小児科2005；46(10)：1645-1650

3

説明と同意

—ICにおける子どもの保護と子どもの権利尊重のバランス

国立成育医療センター研究所成育保健政策科学研究室
掛江直子

はじめに

近年，成人患者に医療を提供する場合，必ず患者本人からインフォームドコンセント(以下，IC)を得なければならないことは当然となった．これは，成人であれば同意能力があり，同意能力のある者の身体に侵襲的行為を行う場合には十分に説明したうえで本人が同意をしなければならないからである．この原則は，すべての患者は“自己決定権”をもち，自らの身体に関する事項を決定する権利があるという考えに支えられる．では，小児患者の場合は，子どもの意思，自己決定権はどのように考え，どのように尊重すればよいのだろうか．本稿では，小児慢性特定疾患治療研究事業(以下，小慢事業)の対象患者の医療ならびに登録事業に関する説明と同意のあり方について倫理の視座から概観する．

小慢事業における説明と同意

ICにおける説明は，治療や臨床研究の場面に限るものではない．小慢事業では，医療費助成に加え，登録研究事業を進めていることから，小慢事業への申請の際の医療意見書の情報を登録することについて，事前に患者(保護者)に説明し，同意を取得することとなっている．

従来は小慢の申請書の一部に医療意見書の情報の研究利用についての同意を求める欄がある程度のICであった．これは，すでに存在している医療意見書の情報を集積するだけであり，身体的侵襲もないことから，研究への情報提供を知らせる程度でよ

いと考えられていたからである．しかし，疫学研究の倫理指針などが整備された現在では，その内容では登録の研究のためのICとしては不十分であると言わざるをえない．そこで，厚生労働科学研究「小児慢性特定疾患治療研究事業の登録・管理・評価・情報提供に関する研究」班の活動の一環として小慢事業における情報の研究利用に関するIC案を作成した(資料)．本案では，登録研究の目的・方法，個人情報保護の手立て，成果の公開，任意性と同意の撤回の自由などについて説明している．本案により登録研究に関するminimal requirementsの情報提供ができ，理解が得られれば，登録患者と研究者との間に理解に基づく良好な相互関係が築けることが期待される．そうなれば，患者のために必要な調査研究を互いの協力のもと進めることができると考える．このような相互の信頼関係の構築という意味でも，登録におけるICは重要なのである．

保護者による代諾

小慢事業のように，研究の対象が子どもである場合，同意は保護者が代行することになる．これは，子どもはまだ成長の過程にあるため，法的にも未成年者である子どもには意思決定権が認められないからである．この意思決定できない患者に代わって患者が受ける行為について承諾(同意)を与える行為を“代諾”という．これは，自らが同意をできないことにより，治療が受けられないなどの不利益が生じる事態を回避するための保護の考え方であり，つま

り法的同意能力のない患者の利益(善)を最大限保障するという行為を指す。

小慢事業登録への同意であれば侵襲もなく患者に大きな不利益を生むことは考えにくいですが、実際の小児医療における代諾の場面では、家族などの代諾を行う者が、自らの自己決定権と混同してしまい、代諾者自身にとって利益となるが、患者にとっては不利益となるような意思決定をしてしまうという事態が生じることもある。これは、患者の利益と家族の利益が衝突するような場合や、患者である子ども本人の考えと保護者の考えが異なる場合に見受けられる。

ICの考え方は、患者本人が医療行為に伴って生じるリスクや不利益を、同意することによって引き受けるという意味を含んでいる。しかし、代諾の場合は代諾によって生じたリスクや不利益を引き受けるのは患者である子ども自身で代諾者ではない。したがって、ICの理念の延長線上で、代諾者という“他人”が“本人”になり代わり“自己”となって自己決定をすることはあってはならないのである。小児医療などの代諾による医療の場合には、このような前提を十分に理解し、患者である子どもの利益や権利が侵害されていないことを確認していくことが重要である。

小児のアセント

近年では、法的同意能力のない患者に対しても、個々人の理解力に応じて十分に説明を行い、患者本人の意思を尊重し、納得して治療に参加してもらうことの重要性が知られるようになった。このような法的同意能力をもたない患者本人による了解を“アセント(assent)”とよぶ。これは、おもに子どもの患者に対して用いられる考え方で、“子どもは成人と異なり自律的な(autonomous)存在ではないのでICの対象とならない”と、小児患者を蚊帳の外に置いてしまう従来の考え方ではなく、子どもの自律性を“発達的な自律性(developing autonomy)”ととらえ(図1)、できるだけ本人の理解を助け、意思決定への参加を支援しようとする考え方である。この考え方は、特に1970年代半ば頃からアメリカを中心に議論が重ねられ、小児患者からアセントを得ることはまさに“患者の権利”の尊重であり、“子

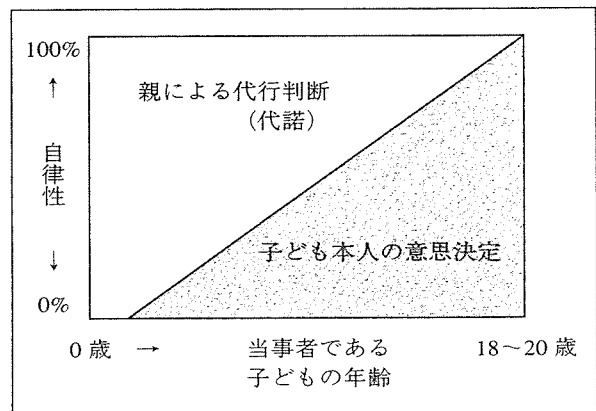


図1 子どもの自律性の発達と意思決定

もの権利”の尊重であると社会に広く理解されるに至った。

アセントでは、疾患について患者である子ども自身が十分に理解することが前提となる。しかし、子どもに対する病名告知に躊躇する医療者や保護者も多い。また、子どもに治療や薬のことが正確に理解できるわけがない、との見方も多い。しかし、この問題については、小児がん患者を対象とした調査研究で、常に病名も含め真実を語り、繰り返し説明をすることにより、子どもであっても病気や自分のおかれた状況を非常によく理解できること、よく理解することにより不安が軽減され、より主体的に治療参加できることなどが明らかになっている¹⁾。

アセントの抱える問題

アセントという言葉はわが国でも徐々に広まり、倫理的概念としてのアセントの重要性についても理解が深まりつつある。しかし、実際の臨床現場で子どもである患者からアセントを取得する場合、そこにはまだまだ検討しなければならない問題が山積している。たとえば、どのような情報をどのくらい説明し、どの程度の理解があれば子どものアセントは適切な手続きによって取得されたと判断できるのか。また、仮に適切な手続きによってアセントが取得された(もしくは了解しないという意思決定を小児患者が行った)場合で、代諾者の判断と小児患者の判断に相違があった場合にどちらの判断を尊重すべきなのか。もし有効な治療法があるにもかかわらず治療を拒否する選択を小児患者が行った場合にその意思を尊重することが適切であるのか。小児患者

〔資料〕

小児慢性特定疾患治療研究事業へのご協力をお願い（案）

小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業と呼びます）は、特定の小児の慢性疾患の治療研究を推進するため、患者さんの治療にかかる医療費の自己負担分を公費で補助する制度です。

本紙は、小慢事業について皆さまにご理解をいただいた上で、治療研究事業へのご協力をお願いするものです。ぜひ本紙をお読みいただき、小慢事業をご理解・ご活用いただくと同時に、治療研究事業へのご協力をお願いいたします。

治療研究とは

この治療研究には、大きく分けて、統計事業と登録研究事業の二つがあります。

○統計事業について

我が国でどのような子どもの病気が発生しているかを把握するためのもので、これは小児医療政策を考える上で、もっとも基礎的な情報となります。実際には、お子様の疾患に関するデータを、厚生労働省（母子保健課）で収集し、国立成育医療センター研究所に設置しております小児慢性疾患データベースに保管し、全国規模で集計いたします。これにより、我が国における小児慢性疾患の患者数を把握します。

○登録研究事業について

小慢事業において支援しているお子様が、どのような症状で、どのような治療を受けられたかという経過を登録によって把握するものです。まず、医療意見書の情報を電子データ化し、データベースに登録します。そして、治療の経過を一年ごとに追加登録し、お子様の診断は正確であるのか、お子様が受けている治療が効果があるのか、治療を受けて（もしくは経過を観察して）一年後、二年後にどのような経過をとっておられるのか、予想外の副作用などは出ていないかといった長期的な治療情報を集計し、治療法の評価や改善のための研究に用います。また、さらに詳しい症状や治療内容を把握する必要がある場合には、主治医に対して二次的な調査を行う場合があります。

これらの統計ならびに登録の結果をもとに、子どもの慢性疾患の治療マニュアルや養育マニュアルを作成し標準化することにより、地域や施設による治療や療育の格差をなくしたり、全国の専門医へ情報を提供したり、専門医が相互に意見を交換するなどの体制整備を強化し、子どもの慢性疾患の治療ならびに支援の向上にむけて努力をしています。

個人情報の保護について

小慢事業における治療研究では、お子様のお名前や住所などの個人を識別できる情報は登録せず、疾患名や地域コード、性別、医療機関名などが登録され、治療研究に活用されます。

また、これらの情報は、名前などの個人情報は含んでおらず、また国立成育医療センター研究所にて厳重に保管されますので、患者様の個人情報が外部に漏れることはありません。

研究成果の公開について

解析結果は、個人情報の保護に十分に配慮した上で、研究報告書にまとめられ、保健所や公的機関などに配布されます。また、次のホームページ（国立成育医療センター研究所 <http://www.nch.go.jp/policy/jyouhou.htm>、および、日本子ども家庭総合研究所 <http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>）にも掲載されますので、ご参照ください。

同意について

小慢事業における統計事業は、事業の実態把握のために、すべての医療費助成を受けておられる患者様の医療情報を自動的に集計解析させていただいております。登録研究事業については、医療費助成の申請時に登録研究事業へご協力をいただけるかをお伺いいたしております。もしご同意いただけなくても、お子様の治療ならびに医療費助成においてなんら不利益は生じません。

また、一旦ご協力の同意をいただいた後でも、お気持ちが変わられたときはいつでも撤回することができます。その場合は、地域の保健所の小慢事業の担当課にご連絡ください。

お問合せ先

なお、小慢事業に関するお問い合わせは、お住まいの地域の保健所までご連絡ください。また、研究事業の成果の詳細ならびに治療、養育に関するご質問がございましたら、下記までご連絡ください。

国立成育医療センター研究所 成育政策科学研究部 部長 加藤忠明

Tel: 03-3416-0181 (内線 4250、4262、4263)

Fax: 03-3417-2694

小児慢性特定疾患治療研究事業 登録研究 同意書

都道府県知事

平成 年 月 日

政令指定都市市長

中核市長 _____ 殿

「小児慢性特定疾患治療研究事業へのご協力をお願い」を読み、当該研究事業の内容を理解しましたので、登録研究事業への協力に同意いたします。

患 児 氏 名 _____

保護者 署 名 _____ (続柄)

の生命保護と自律性(自己決定)の尊重とのバランスの見極めというのは、症例ごとに悩ましく、容易ではないのである。

まとめ

しかし、やはり小児医療においてアセントは重要である。アセントは、前述のように、子どもである患者本人の自律性を尊重することにより、患者本人の人格を尊重することができるという意味で倫理的に非常に重要である。さらに、アセントを求めることにより、自分の病気、自分の身体で起こっている事柄について、常に自分の問題としてとらえ理解することができるため、子ども自身による適切なリスクマネジメントも期待できる。慢性疾患とともに生きていく子どもたちに早期に病気について説明し、常に本人のアセントを求めていくことにより、ICのプロセスに医療の主体者として参加させることは、とても大切なことであるといえる。

また、子どもたちが成長し、大人になっていく過程で、保護者による代諾から本人同意への切り替えを行っていくことも今後重要になっていくだろう。

つまり、治療や臨床研究終了後のフォローアップ調査や、検査検体や医療情報の研究への提供など、保護者の代諾によって承諾されている行為について、患者本人に法的同意能力が認められるようになった時点で、改めて本人の意思を確認し、本人同意への切り替えを行うことが必要になってくると考える。

最後に、小児医療では、患者である子どもの権利を守るという視点を常に持ち続けることが不可欠である。そして、子どもの権利を守る一つの方法として、代諾があり、アセントがあるのである。近年、未成年者の遺伝子診断、血縁者間の骨髄提供、治療的効果の期待できない医学研究への参加など、本人の利益にならないであろう医療行為についても、代諾やアセントを用いて子どもを参加させる動きもある。われわれ小児医療に携わる者は、子どもの利益や権利を守るということはどういうことか、常に考えていかなければならない。

文 献

- 1) 掛江直子：がんの子どもに対する真実告知——バイオエシックスの視座から。吉峯康博(編)、医療と子どもの人権。明石書店、1998；98-109

4

登録者と研究事業

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

1998～2003(平成10～15)年度に全国で使用された小児慢性特定疾患10疾患群の医療意見書、および成長ホルモン治療用意見書の内容は、電子データとして厚生労働省に2005年6月末までに事業報告が行われた。その内容、延べ690,811人分の資料が疫学的、縦断的に解析された¹⁾。

これらは、治療研究事業として研究の資料にすることへの同意を患児の保護者から得ている。また、この電子データには、自動計算された患児の発病年月齢や診断時(意見書記載時)の年月齢は含まれるが、プライバシー保護のため、患児の氏名や住所な

どは自動的に削除されている。

年度別登録人数

1998～2002年度の小児慢性特定疾患治療研究事業(以下、小慢事業)の資料は、全国ほぼすべての実施主体からの事業報告であり、1998年度全国延べ106,790人分、1999年度115,893人、2000年度120,652人、2001年度116,685人(千葉市のみ未報告)、2002年度113,871人であった。2003年度は全国95か所の実施主体のうち、京都府と京都市を除く93か所からの事業報告であり、延べ116,920人(成長ホルモン治療用意見書提出例10,601人は重複し

て算出)分であった。

1999年度以降の登録は、1998年度に比較して、全般的に登録数がやや増加し、また明らかなコンピュータ入力ミスなど、不明な内容が減少し、全国的な実態をより反映した、より正確な資料となっていた。

④ 疾患別登録人数

2002年度に全国で1,000人以上登録された疾患および登録人数は、都道府県単独事業も含めて多岐に、成長ホルモン分泌不全性低身長症 11,952人、白血病 6,845人、甲状腺機能低下症 6,048人、気管支喘息*5,783人、1型糖尿病 3,806人、脳(脊髄)腫瘍 3,716人、ネフローゼ症候群*3,155人、甲状腺機能亢進症 3,152人、神経芽腫 2,868人、川崎病*2,464人(冠動脈瘤・拡張症・狭窄症を含めると 3,944人)、心室中隔欠損症*2,359人、血管性紫斑病 2,313人、思春期早発症 2,160人、若年性関節リウマチ 2,128人、胆道閉鎖症 2,067人、慢性糸球体腎炎*1,986人、悪性リンパ腫 1,403人、血友病 A 1,302人、慢性甲状腺炎 1,117人、ターナー(Turner)症候群 1,105人、水腎症*1,057人、2型糖尿病 1,074人、網膜芽細胞腫 1,052人であった(*を付した疾患は、1か月以上の入院が対象であったため、登録人数は実人数より少なかった)。

詳細は、以下のホームページを参照されたい。頻度の比較の高い疾患に関しては、男女別、年齢別、合併症の有無別、経過別の登録人数も掲載している。

<http://www.nch.go.jp/policy/jyouhou.htm>

⑤ 非登録者の問題と情報提供

小慢事業の登録人数には、市町村事業である乳幼児医療費助成制度利用者、また、小慢事業への非同意者は含まれていない。2003年度小慢事業では、95か所中62か所の実施主体から疾患群ごとの非同意者数の報告があった。非同意者の割合は、48か所の実施主体が平均0.2%、14か所が平均16.0%、合計62か所が平均6.4%であった。前者の実施主体は、申請書と同意書が同一書類であるなど、同意を前提として小慢事業に申請させていた可能性が考えられる。

非同意者に関しては、患児家族に小慢事業の有用

性を十分に説明して、理解と同意を得られるようにしたい。その一つの方法として、個人情報はずべて除いたうえで研究班の成果を上記のホームページに公表していることを説明する。

⑥ 小児慢性特定疾患治療研究事業の有用性

小慢事業は、他の情報源と比較して全国的な高い登録率と登録データの精度の向上によって、疫学的な有用性が高まっている。たとえば悪性新生物では、従来の全国小児癌登録と比較して、脳神経外科医の申請が多い脳腫瘍、整形外科領域の骨肉腫、ユーイング(Ewing)腫瘍の頻度が高かった。欧米諸国との比較では、日本には神経芽腫の頻度が高く、悪性リンパ腫、特にホジキン(Hodgkin)病が低かった。近年、小児の悪性新生物の治療成績が大きく向上した背景として、小慢事業の支援によりすべての子どもが十分な治療を受けられることが大きな要因としてあげられる。また、フェニルケトン尿症の患児は、推計88%が小慢事業に登録されていた。

⑦ 今後の小児慢性特定疾患治療研究事業

現在、実施主体から送られてくる電子データには、欠損値が多い項目があったり、本来ありえない内容が入力されていたり、一部信頼性に欠ける部分がある。また、完全に治癒、あるいは逆に死亡した場合の情報が入手できない。そこで、今後は電子データに載っている医療機関に依頼して、登録疾患に関する二次調査を行い電子データの内容を確認したり、追跡調査によって患児の転帰を調査したり、小慢事業の有用性を高めたい。

また、それらを実施することにより、同一疾患の患児を治療している医療機関の全国的なネットワークをつくり、必要な情報交換を即座に行えるシステムを構築したい。最終的には、患児家族の同意を得て各種の資料を集めたデータベースを中央で管理し、データを経年的に蓄積するなかで、その解析結果を患児家族や医機関に提供するシステムを構築したい。

⑧ 文 献

- 1) 平成17年度厚生労働科学研究報告書：小児慢性特定疾患治療研究事業の登録・管理・評価・情報提供に関する研究(主任研究者 加藤忠明)、2006

5

重症患児認定基準

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

2005(平成17)年度以降、患児が属する世帯の生計中心者の所得に応じた一部自己負担額の支払いが必要になっている。しかし、以下の小児慢性特定疾患重症患者認定基準を満たした場合は、その支払いを要しない。小児慢性特定疾患治療研究事業の対象患児のおおむね4~5%が以下の基準を満たすものと想定されている。

1 すべての疾患に関して、次に掲げる症状のうち、一つ以上が長期間(おおむね6か月以上)継続すると認められる場合

| 対象部位 | 症状の状態 |
|-------|---|
| 眼 | 眼の機能に著しい障害を有するもの(両眼の視力の和が0.04以下のもの) |
| 聴器 | 聴覚機能に著しい障害を有するもの(両耳の聴力レベルが100 db以上のもの) |
| 上肢 | 両上肢の機能に著しい障害を有するもの(両上肢の用を全く廃したもの) |
| | 両上肢のすべての指の機能に著しい障害を有するもの(両上肢のすべての指を基部から欠いているもの、両上肢のすべての指の機能を全く廃したもの) |
| | 一上肢の機能に著しい障害を有するもの(一上肢を上腕の1/2以上で欠くもの、一上肢の用を全く廃したもの) |
| 下肢 | 両下肢の機能に著しい障害を有するもの(両下肢の用を全く廃したもの) |
| | 両下肢を足関節以上で欠くもの(両下肢を足関節以上で欠くもの) |
| 体幹・脊柱 | 1歳以上の児童において、体幹の機能に座っていることができない程度または立ち上がることができない程度の障害を有するもの(1歳以上の児童において、腰かけ、正座、あぐら、横すわ |

| | |
|-------|--|
| | りのいずれもができないもの、または、臥位または坐位から自力のみでは立ち上がれず、他人、柱、杖、その他の器物の介護または補助によりはじめて立ち上がることができる程度の障害を有するもの) |
| 肢体の機能 | 身体の機能の障害または長期にわたる安静を必要とする病状が、上記と同程度以上と認められる状態であって、日常生活の用を弁ずることを不能ならしめる程度のもの(一上肢および一下肢の用を全く廃したものを、四肢の機能に相当程度の障害を残すもの) |

2 1に該当しない場合であって、各疾患群に関して以下の項目に該当する場合

| 疾患群 | 該当項目 |
|---------|---------------------------------------|
| 悪性新生物 | 転移、または再発があり、濃厚な治療を行っているもの*1 |
| 慢性腎疾患 | 血液透析または腹膜透析(持続携帯腹膜透析;CAPDを含む)を行っているもの |
| 慢性呼吸器疾患 | 気管切開管理または挿管を行っているもの*2 |
| 慢性心疾患 | 人工呼吸管理または酸素療法を行っているもの |
| 先天性代謝異常 | 知能指数20以下、または1歳以上の児童において、寝たきりのもの |
| 神経・筋疾患 | 発達・知能指数は20以下、または1歳以上の児童において、寝たきりのもの |
| 慢性消化器疾患 | 気管切開管理または挿管を行っているもの |

*1: 濃厚な治療を行っている場合、白血病等で浸潤を転移と見なしてよい。

*2: 気管切開管理または挿管と同等の持続的人工呼吸管理であれば対象となる。

6

福祉サービス

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

小児慢性疾患児養育経験者などによる相談事業(都道府県事業)

主として保健所で行われているピアサポート事業である。以前より「難病のこども支援全国ネットワーク」は、病気や障害のある子どもたちと家庭へのサポートを目的として、ネットワーク電話相談室を開設し、医療や福祉に関する相談を受け付け、また親の会や同病の患者を紹介するなど広範囲な活動を続けていた。

ピアサポート事業では、この相談事業を拡張し、実際にピアサポーターが出向き、よろず相談や各種手続きの付添い、ボランティアのコーディネートなど、より身近なサポートを継続して行っている。詳細は、以下のホームページを参照されたい。

<http://www.nanbyonet.or.jp>

患者に対する日常生活用具の給付(市町村事業)

日常生活を営むのに著しく支障のある在宅の小児慢性特定疾患児に対しては、2005(平成17)年度より日常生活用具を給付することにより日常生活の便宜を図っている。給付の対象となる用具の種目を以下に示す。詳細は、次のホームページを参照されたい。

<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui12.htm>

1 小児慢性特定疾患児日常生活用具給付事業による種目

| 種目 | 対象者 | 性能等 |
|--------|-------------|--|
| 便器 | 常時介助を要する者 | 小児慢性特定疾患児が容易に使用しうるもの(手すりをつけることができる) |
| 特殊マット | 寝たきりの状態にある者 | 褥瘡の防止または失禁などによる汚染または損耗を防止できる機能を有するもの |
| 特殊便器 | 上肢機能に障害のある者 | 足踏ペダルにて温水温風を出しうるもの。ただし、取り替えにあたり住宅改修を伴うものを除く |
| 特殊寝台 | 寝たきりの状態にある者 | 腕、脚などの訓練のできる器具を付帯し、原則として使用者の頭部および脚部の傾斜角度を個別に調整できる機能を有するもの |
| 歩行支援用具 | 下肢が不自由な者 | おおむね次のような性能を有する手すり、スロープ、歩行器などであること ア 小児慢性特定疾患児の身体機能の状態を十分踏まえたものであって、必要な強度と安定性を有するもの イ 転倒予防、立ち上がり動作の補助、移乗動作の補助、段差解消などの用具となるもの |
| 入浴補助用具 | 入浴に介助を要する者 | 入浴時の移動、坐位の保持、浴槽への入水などを補助でき、小児慢性特定疾患児または介助者が容易に使用しうるもの |
| 特殊尿器 | 自力で排尿できない者 | 尿が自動的に吸引されるもので小児慢性特定疾患児または介助者が容易に使用しうるもの |
| 体位変換器 | 寝たきりの状態にある者 | 介助者が小児慢性特定疾患児の体位を変換させるのに容易に使用しうるもの |

| | | |
|---------|-----------------|---|
| 車椅子 | 下肢が不自由な者 | 小児慢性特定疾患児の身体機能を十分踏まえたものであって、必要な強度と安定性を有するもの |
| 頭部保護帽 | 発作などにより頻繁に転倒する者 | 転倒の衝撃から頭部を保護できるもの |
| 電気式痰吸引器 | 呼吸器機能に障害のある者 | 小児慢性特定疾患児または介助者が容易に使用しうるもの |
| クールベスト | 体温調節が著しくむずかしい者 | 疾病の症状に合わせて体温調節のできるもの |

| | | |
|------------|-------------------------------------|--------------|
| 紫外線カットクリーム | 紫外線に対する防御機能が著しく欠けて、癌や神経障害を起こすことがある者 | 紫外線をカットできるもの |
|------------|-------------------------------------|--------------|

7

医療意見書

国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
加藤忠明

実施主体は、小児慢性特定疾患治療研究事業の適正かつ円滑な実施を図るため、医学の専門家らから構成される小児慢性特定疾患対策協議会を設置している。医療意見書は、その協議会に諮られて小児慢性特定疾患治療研究事業への対象の可否を判定され

ると同時に、治療研究事業として研究の資料となる。その11疾患群の医療意見書、および成長ホルモン治療用意見書は後述の通りである。以下のホームページを参照されたい。

<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui10.htm>

② 小児慢性特定疾患(慢性腎疾患)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | |
|--|---------|-----------------------------------|---------|----------|-----|---|-----------|
| 受給者番号 () | | 新規(新規診断、転入 ^{注1)})、継続、再開 | | | | | |
| 患者 | ふりがな氏名 | 男女 | 生年月日 | 昭和 平成 | 年 | 月 | 日 (満歳) |
| 発病 | 昭・平 | 年 | 月頃 | 初診日 | 昭・平 | 年 | 月 日 |
| 疾患区分 | 02慢性腎疾患 | 疾患名 | ICD () | | | | |
| 現在の症状： | | | | | | | |
| 平成 年 月 日 ^{注2)} の身長 cm、体重 kg、血圧 / | | | | | | | |
| <p>診断の根拠となつた主要な検査等の結果(数値等)を○をつけて、必要な場合()に記載して下さい。</p> <p>該当するもの○を○をつけて、必要な場合()に記載して下さい。</p> <p>血清：無・有(肉眼的血尿、視野)、蛋白尿：無・有(mg/dl)^{注3)} 総蛋白(g/dl)、(アルブミン g/dl)^{注3)}、クレアチニン(mg/dl) BUN (mg/dl)、総コレステロール(mg/dl) IgA (mg/dl)、C3 (mg/dl) 腎エコー：未実施、実施(特記すべき所見：無、有) 腎生検：未実施、実施(所見)</p> | | | | | | | |
| その他の現在の主な所見等：合併症(無、有) | | | | | | | |
| <p>経過(これまでに行われた主な治療、主要な検査等の結果)を○をつけて、必要な場合()に記載して下さい。</p> <p>薬物療法：未実施、実施(ステロイド薬、免疫抑制薬、抗凝固薬、抗血小板薬、アルブミン製剤、降圧薬、その他) 腹膜・血液透析：未実施、実施 泌尿器科的手術：不要、必要 腎移植：未実施、実施 1つに○印：治療、寛解、改善、不変、再発(回)^{注4)}、悪化、死亡、判定不能</p> | | | | | | | |
| 今後の治療方針 | | | | | | | |
| 学校生活管理指導表の指導区分：A、B、C、D、E (幼児も同様の基準に準じる) | | | | | | | |
| 治療見込期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日(月回) | | | | | |
| 上記の通り診断する | | | | 医療機関所在地 | | | |
| 平成 年 月 日 | | | | 名称 科 | | | |
| | | | | 医師氏名 印 | | | |

- 注1) 転入の場合は転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。
- 注2) 新規値をは初診時についで、または転入時についで記入して下さい。ただし継続は直近の計測値を記入して下さい。
- 注3) ステロイド薬の投与は、4週間のステロイド終了時、または性成熟後、またはネフローゼ症候群の場合は、半年間に再発した回数を記入して下さい。
- 注4) 慢性腎不全で成長ホルモン治療を要する場合は「成長ホルモン治療(初回、継続)」を添付して下さい。
- 注5) 低身長治療を伴う慢性腎不全で成長ホルモン治療を要する場合は「成長ホルモン治療(初回、継続)」を添付して下さい。

③ 小児慢性特定疾患(慢性呼吸器疾患)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | |
|--|---------------|-----------------------------------|-----|---------------------------|-----------|----------|----------------|
| 受給者番号 () | | 新規(新規診断、転入 ^{注1)})、継続、再開 | | | | | |
| 患者 | ふりがな 氏名 | | | 男女 | 生年 月日 | 昭和 平成 | 年 月 日 (満 歳) |
| 発病 | 昭・平 年 月 頃 | | | 初診日 | 昭・平 年 月 日 | | |
| 疾患 区分 | 03 慢性呼吸器疾患 | | 疾患名 | ICD () | | | |
| <p>症状：該当するものに○をつけ、特記すべき事項を記載して下さい。 大発作：無、有(頻度：年数回以上、半年に3回以上、 3か月に3回以上、月に3回以上) 発作型(間欠型、軽症持続型、中等症持続型、重症持続型1、重症持続型2)</p> | | | | | | | |
| <p>診断の根拠となつた主要な検査等の結果 (該当するものに○をつけ、必要な場合()に記載して下さい。 血液検査：IgE (U/ml)、RAST陽性抗原 () 末梢血検査：好酸球 (/mm³)、喀痰または鼻汁の好酸球(-、+、++、+++) 呼吸機能検査：FEV_{1.0} (ml)、%FEV_{1.0} (%)、%PEF (%) 吸入道過敏性検査：未実施、実施(過敏性：無、有) その他 ()</p> | | | | | | | |
| その他の現在の主な所見等：合併症(無、有) | | | | | | | |
| 経過(これまでに行われた主な治療、主な検査等の結果) | | | | | | | |
| <p>該当するものに○をつけ、必要な場合()に記載して下さい。 ステップ1、2、3、4(または4-1、4-2) (1)長期入院例、(2)ステロイド依存例(吸入性ステロイドを除く) (3)1年以内に意識障害を伴う大発作あり、(4)気管支炎や肺炎を繰り返す 1か月間の治療点数() (1つに○印：治癒、寛解、軽快、不変、再発、悪化、死亡、判定不能)</p> | | | | | | | |
| 今後の治療方針 | | | | | | | |
| 該当する治療法に○印： 薬物療法、人工呼吸管理、酸素療法、気管切開管理、挿管、中心静脈栄養 | | | | | | | |
| 治療見 期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日(月 回) | | | | | |
| 上記の通り診断する 平成 年 月 日 | | | | 医療機関所在地 名称 科 医師氏名 印 | | | |

注1) 転入の場合は、転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。
 注2) (ベータ刺激剤吸入後のFEV_{1.0}-吸入前のFEV_{1.0})/(吸入前のFEV_{1.0})×100%

⑤ 小児慢性特定疾患(内分泌疾患)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | |
|--|--|-----------------------------------|---------|-----------|---|---|-----------|
| 受給者番号 () | | 新規(新規診断、転入 ^{注1)})、継続、再開 | | | | | |
| 患者 | ふりがな氏名 | 男女 ^{注2)} | 生年月日 | 昭和 平成 | 年 | 月 | 日 (満歳) |
| 発病 | 昭・平 年 月 頃 | | 初診日 | 昭・平 年 月 日 | | | |
| 疾患区分 | 05 内分泌疾患 | 疾患名 | ICD () | | | | |
| 現在 先天 新生 | 平成 年 月 日 ^{注3)} の身長 cm、体重 kg (撮影 年 月) Tanner B/G ^{注4)} 歳 (乳、房腫脹、陰毛形成のみは除く) 二次性甲状腺機能低下症、先天性副腎過形成、骨年齢の場、どちらかに○印： 二次性甲状腺機能低下症、先天性副腎過形成、骨年齢の場、どちらかに○印： | | | | | | |
| 所見 | 新規は、診断の根拠(症状、身体所見、検査成績を数値で具体的に) 継続は、前回申請後現在までの状況(同様の項目) | | | | | | |
| 甲状腺機能：T4(μg/dl)、fT4(ng/dl)、T3(ng/ml)、TSH(μU/ml) | | | | | | | |
| その他の合併症(無、有) | | | | | | | |
| 経過(これまでに行われた主な治療) (1つに○印：治癒、寛解、改善、不変、再燃、悪化、死亡、判定不能) | | | | | | | |
| 今後の治療方針 該当する治療法に○印：補充療法、機能的抑制療法、手術療法、その他薬物療法 成長ホルモン症候群の内分泌不全：成長抑制用、長期治療、副作用の少ない薬物療法、プラダール。 | | | | | | | |
| 治療見込期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日(月回) | | | | | |
| 上記の通り診断する 医療機関所在地 科 平成 年 月 日 医師氏名 印 | | | | | | | |

- 注1) 転入の場合には、転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。
 注2) 慢性疾患は、性、の、転入前、都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。
 注3) 新規診断は、初診時、または、転入前、都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。ただし継続は直近の計測値を記入する。
 注4) B/G: breast/genitalia stages、PH: pubic hair stages
 注5) 睾丸形成不全・欠損症、卵巣形成不全は、両側性のことを明記して下さい。

⑥ 小児慢性特定疾患(膠原病)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | |
|---|------------|---------------------------------|----------|---------------|---|---|---------------|
| 受給者番号 () | | 新規(新規診断、転入 ^注)、継続、再開 | | | | | |
| 患者 | ふりがな 氏名 | 男女 | 生年 月日 | 昭和 平成 | 年 | 月 | 日 (満 歳) |
| 発病 | 昭・平 年 月頃 | | 初診日 | 昭・平 年 月 日 | | | |
| 疾患 区分 | 06 膠原病 | 疾患名 | ICD () | | | | |
| 該当するものに○をつけ、必要な場合 () に記載する。*JRA/JIAのみ記入 | | | | | | | |
| 現在の症状：関節症状：無、有 () 皮膚症状：無、有 ()、発熱：無、有、レイノー症状：無、有 () 眼症状：無、有 ()、口腔内症状：無、有 () その他： () | | | | | | | |
| 現在の治療：無、有 (非ステロイド系抗炎症薬、ステロイド薬、免疫調整薬、 免疫抑制剤、抗凝固薬、γグロブリン製剤、強心利尿薬、理学療法、 生物学的製剤、その他：) | | | | | | | |
| 診断の根拠となった主な検査等の結果(継続の場合は現在の状況) 赤沈 (mm/hr)、CRP (mg/dl)、AST (増、正)、ALT (増、正) 末梢血：白血球 (増、正、減)、貧血 (有、無)、血小板 (増、正、減) 抗核抗体 (倍)、抗DNA抗体 (IU/ml)、リウマトイド因子(未検査、陰性、陽性) 抗SS-A/Ro抗体(未検査、陰性、陽性)、抗SS-B/La抗体(未検査、陰性、陽性) 抗RNP抗体(未検査、陰性、陽性)、抗平滑筋抗体(未検査、陰性、陽性) 冠動脈所見：無、有 (拡張、瘤形成、巨大瘤、狭窄)、不明 冠動脈生検：未実施、実施 (部位) その他： () | | | | | | | |
| その他の現在の主な所見等：合併症 (無、有) | | | | | | | |
| 経過 (これまでに行われた主な治療、主な検査等の結果) | | | | | | | |
| 1つに○印：治癒、寛解、軽快、不変、再発、再燃、悪化、死亡、判定不能 | | | | | | | |
| 今後の治療方針 | | | | | | | |
| 治療見 期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 (月 回) | | | | | |
| 上記の通り診断する | | 平成 年 月 日 | | 医療機関所在地 名称 | | 科 | |
| | | | | 医師氏名 | | 印 | |

注) 転入の場合は、転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。

⑦ 小児慢性特定疾患(糖尿病)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | |
|--|--|-----------------------------------|---------|-----------|---|---|---------------|
| 受給者番号 () | | 新規 (新規診断、転入 ^{注)})、継続、再開 | | | | | |
| 患者 | ふりがな 氏名 | 男女 | 生年月日 | 昭和 平成 | 年 | 月 | 日 (満 歳) |
| 発病 | 昭・平 年 月 頃 | | 初診日 | 昭・平 年 月 日 | | | |
| 疾患 区分 | 07 糖尿病 | 疾患名 | ICD () | | | | |
| 以下 多尿 全身 学校 | <p>現在の症状：平成 年 月 日の身長 (cm)、体重 (kg)、必要場合 () に記載し、下 () さい。 該当するものに○をつけ、必要な場合 () に記載して下さい。 倦怠 (年 月 頃より)、意識障害・昏睡 (年 月 頃より)、その他 () 尿で発見 (有、無)、その他 ()</p> <p>現在の治療：(1)インスリン、(2)経口血糖降下薬、(3)IGF-1、 (4)食事・運動療法のみ</p> | | | | | | |
| <p>診断の根拠となった主な検査等の結果 (診断時の場合は数値等を用いて具体的に記載、継続の場合は現在の状況) (該当するものに○をつけ、必要な場合 () に記載して下さい。)</p> <p>病型：1型糖尿病、2型糖尿病、分類不能、随時・空腹時血糖値 (mg/dl) insulin (μ U/ml)、HbA_{1c} (%)、随時尿糖値・早朝尿糖値 (g/dl) ケトン尿 (-、+、++、+++)、蛋白尿 (-、+、++)、血清GAD抗体 (U/ml) 血清：Na (mEq/l)、K (mEq/l)、Cl (mEq/l) 中性脂肪 (mg/dl)、BUN (mg/dl)、クレアチニン (mg/dl) GOT (mIU/ml)、GPT (mIU/ml)、総コレステロール (mg/dl) O-GTT (2型糖尿病のみ) (g 負荷)：前 (mg/dl)、 1時間 (mg/dl)、2時間 (mg/dl)</p> | | | | | | | |
| <p>その他の現在の主な所見等： 糖尿病性合併症 (無、有) ()</p> <p>その他の合併症 (無、有) ()</p> | | | | | | | |
| 経過 (これまでに行われた主な治療、主な検査等の結果) | | | | | | | |
| (1つに○印：治療、寛解、改善、不変、再燃、悪化、死亡、判定不能) | | | | | | | |
| 今後の治療方針 | | | | | | | |
| 治療見 期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 (月 回) | | | | | |
| 上記の通り診断する | | 医療機関所在地 | | | 科 | | |
| 平成 年 月 日 | | 医師氏名 | | | 印 | | |

注) 転入の場合は、転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。

⑧ 小児慢性特定疾患(先天性代謝異常)医療意見書(平成 年度)

| | | | | | | | | |
|---|---------------------------|----------------------------------|---------|-----------|---------------|---|-------|---|
| 受給者番号 () | | 新規(新規診断、転入 ^{注)})、継続、再開 | | | | | | |
| 患者 | ふりがな氏名 | 男女 | 生年月日 | 昭和 平成 | 年 | 月 | 日(満歳) | |
| 発症 | 昭・平 年 月 頃 | | 初診日 | 昭・平 年 月 日 | | | | |
| 疾患区分 | 08 先天性代謝異常 | 疾患名 | ICD () | | | | | |
| 現在の症状：該当するものに○をつけ、必要な場合は自由記載して下さい マスクリーニングで発見(有、無)、知的障害(有、無)、運動障害(有、無)、 成長障害(有、無)、けいれん(有、無)、嘔吐/下痢(有、無)、 肝腫(有、無)、特異顔貌(有、無)、眼科的異常(有、無)、 骨変形(有、無)、尿路結石(有、無)、その他() | | | | | | | | |
| 診断の根拠 | 検査の結果(該当するものに○をつけ、数値等を記す) | | | | | | | |
| 血液 | アミノ酸、有機酸、脂質、アンモニウム、pH、その他 | | | | | | | |
| 尿 | アミノ酸、有機酸、ムコ多糖体、グルコース、その他 | | | | | | | |
| その他 | その他() | | | | | | | |
| 合併症 | その他() | | | | | | | |
| 運動学 | その他() | | | | | | | |
| 経過(これまでに行われた主な治療、主な検査等の結果) | | | | | | | | |
| (1つに○印：治癒、寛解、改善、不変、再燃、悪化、死亡、判定不能) | | | | | | | | |
| 今後の治療方針 | | | | | | | | |
| 軟骨無形成症の場合：成長ホルモン治療(要、不要) 添付する成長ホルモン治療用意見書は(初回、継続) | | | | | | | | |
| 治療見込期間 | 入院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日 | | | | | | |
| | 通院 | 平成 年 月 日から平成 年 月 日(月 回) | | | | | | |
| 上記の通り診断する | | 平成 年 月 日 | | | 医療機関所在地 名称 | | | 科 |
| | | | | 医師氏名 | | | 印 | |

注) 転入の場合は、転入前の都道府県・指定都市・中核市名を記入して下さい。