

年の調査でも、基準値AとしてTSH 50mIU/L (全血値, 以下同じ) が2施設, 40mIU/Lが3施設, 30mIU/Lが29施設, 25mIU/Lが2施設, 20mIU/Lが5施設, 15mIU/Lが1施設と、全く統一されていない¹⁵⁾。

その大きな理由は、各実施主体において、専門医との連携が不十分であることが挙げられる。すなわち専門医が指名されると考えられるコンサルタント医師(顧問医)がいるのは調査回答43施設中23施設、地域の連絡協議会(専門医を含んだ関係者会議)が設置されているのが23施設であり、14施設(32.6%)ではどちらの方法によっても専門医との公式の連携が確立していなかった⁴⁾。

厚生省、厚生労働省の研究班や毎年、社会福祉法人恩賜財団母子愛育会が厚生労働省の委託を受けて開催している「先天性代謝異常症等検査技術者研修会」等、わが国の新生児マススクリーニングの標準化に向けた取組は行われてきたが、各実施主体が標準化に主体的に取り組まない限り、現状は変わらないのはこれまでの経緯からも明らかである。

Ⅲ. わが国の新生児マススクリーニングの21世紀における課題

厚生労働科学研究「わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究」(主任研究者: 島根大学小児科山口清次教授)中の分担研究「現行マススクリーニングの問題解決に関する研究」において検討を行ったところ、問題点は以下の3点、「精度管理(精度保証)」「情報管理(追跡調査)」「倫理的問題など」に整理された⁵⁾。

1. 精度管理

先天性代謝異常症検査等実施要綱の7)に示したように、スクリーニング開始当初よりスクリーニング検査と同時に、スクリーニング精度管理も一体となって実施されてきている。一般臨床検査でも「精度管理, quality control」という言葉が使われているが、その場合は測定の正確さなどに重点が置かれている。しかし、新生児マススクリーニングでは、多数の正常新生児の中から、最も発見頻度の高いCHでも約

3,000~3,500人に1人という稀な対象疾患患児を見逃すことなく発見することを要求されている。そのため、多数の正常値を示す濾紙血検体の中から、異常値を示す検体を見逃さないという形での「精度管理」がスクリーニング当初から行われてきた。

具体的には、精度管理機関から、軽度の異常値を示す濾紙血検体を正常値の検体に混せて各検査機関に定期的を送付し、その異常検体を適切に検出できるかの外部精度管理が行われてきた。スクリーニング開始当初は見逃し率が0.63%程度と高率であったが、徐々に改善していった。最近では、測定結果を所定の用紙に記入する際の「誤り」も見逃しにつながるものと考えて、検査機関を指導しているが、その誤り率は0.22%と「ゼロ」にはなっていない¹⁶⁾。

新生児マススクリーニングでは、一般の臨床検査機関の「検査」の精度管理とは異なり、図1のフローチャートのすべての過程での誤りを最少にする精度管理の仕組みが求められている。現在の精度管理方法は、外部精度管理検体

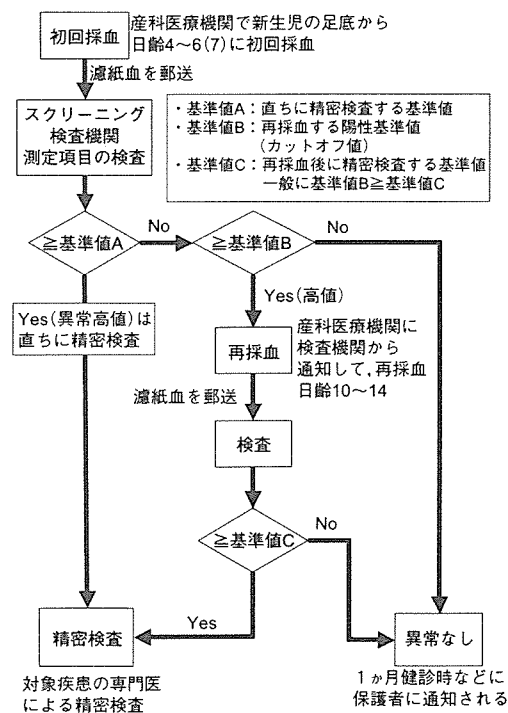


図1 日本の新生児マススクリーニングのフローチャート

とわかる形での濾紙血検体が送付され、それでも誤記入などがゼロとなっていない。

スクリーニング検査機関の質をより向上させるためには、通常的新生児濾紙血検体と区別がつかないような検体 (blind sample, ブラインドサンプル) の送付が必要であり、現在、パイロットスタディが行われている¹⁷⁾。

2. 情報管理 (追跡調査)

公費が使われて行われているマススクリーニングでは、患児の発見、治療などに要する「費用」と、発見されたことで患児、その家族、社会全体にどれほど有益であるかの「効果」が比較され、効果が費用に数倍するような状態、すなわち費用対効果が良好であることが求められる。

この費用対効果を算定するための前提条件は、スクリーニングによって発見された患児 (TP) が適切に診断・治療され、発見されなかった偽陰性者 (false negative, FN) がほとんどいないことが確認され、また一過性に異常値を示した偽陽性者 (FP) に対する不要な診断・治療が行われないことが把握されていなければならない。そのためには、スクリーニングで陽性となった者全員 (TP+FP) の追跡調査が行われ、最終的な診断が把握されている必要がある。

こうした追跡調査は、代謝異常症に関しては母子愛育会総合母子保健センター内の特殊ミルク事務局が長年担当し、特殊ミルク情報という機関誌に報告されてきた。

またCHやCAHについては、スクリーニング開始当初は厚生省研究班、1994年度からはやはり特殊ミルク事務局が担当する形でその成果が報告されてきた。

しかし、1990年ころから各自治体での個人情報保護条例の施行などにより、患児や家族のプライバシー保護が優先され、公的資金によるマススクリーニングであるという面が忘れられがちとなり、追跡調査に協力する自治体が約40%にまで減少し現在に至っている¹⁸⁾。

関連学会や専門医の間では、国立成育医療センターなどのような施設での、国の関与が明らかかな形での追跡調査の再構築を求めるコンセン

サスができているが、実際の追跡調査再開にはいくつかの障壁が残されている。

3. 倫理的問題や新しいスクリーニング

乳幼児の健康の保持増進のための、母性および保護者の努力を規定した母子保健法第4条2項には「乳児又は幼児の保護者は、みずからすすんで、育児についての正しい理解を深め、乳児又は幼児の健康の保持及び増進に努めなければならない」と記載されている。わが国の新生児マススクリーニングに関する直接の法的な規定はないが、このような母子保健法の精神により、国および地方公共団体は保護者に適切な情報を提供し、乳幼児の健康増進にあたる責務を有している。

世界的に新生児マススクリーニングを考えた場合、ガスリー法による数種類の先天代謝異常症のスクリーニング、その後のCHやCAHといった内分泌疾患スクリーニングの普及が20世紀中にみられたあと、21世紀はタンデム型質量分析計 (タンデムマス) という新技術による20~30種類の対象疾患の一斉スクリーニングの時代となっている⁷⁾。

その詳細は別論文⁷⁾に譲るが、精度管理、情報管理の再構築とともに、わが国の21世紀の新生児マススクリーニングは、タンデムマススクリーニングをいかに導入できるかという分水嶺にさしかかっている。

わが国の子どもたちの未来のために、ふさわしい選択がなされることを願い本稿を終えたい。

本論文は、厚生労働科学研究費補助金 (子ども家庭総合研究事業) 「わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究」および「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」の補助を受けて作成された。研究にご支援、ご協力下さっている関係者の皆様に深謝いたします。

文 献

- 1) 北川照男. 新生児マススクリーニングの17年間を回顧して. 小児内科 1994; 26: 1951-1955.
- 2) 成瀬 浩. 我が国の新生児スクリーニングの生

- い立ち. 周産期医学 1998; 28: 545-549.
- 3) 黒田泰弘. わが国における新生児マス・スクリーニングのあゆみ. 小児科診療 2000; 63: 1293-1302.
 - 4) 原田正平, 加藤忠明, 掛江直子, 他. スクリーニング検査機関のパフォーマンスモニタリングを継続的に行うための問題点に関する研究. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究 平成16年度総括・分担研究報告書 2005: 119-121.
 - 5) 原田正平, 加藤忠明, 掛江直子. 現行マススクリーニングの問題点の継続的な監視と改善のためのシステムについて. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究 平成17年度総括・分担研究報告書 2006: 136-138.
 - 6) 原田正平. クレチン症マススクリーニング. 北海道公衆衛生学雑誌 1993; 7: 161-176.
 - 7) 山口清次. 新生児マススクリーニングの新しい動き—質量分析の導入による新展開—. 日本医事新報 2004; 4175: 19-25.
 - 8) マス・スクリーニング倫理審議委員会(松田一郎). マス・スクリーニングの施行に関するガイドライン. 日本マス・スクリーニング学会誌 1998; 8(Supplement 2): 1-5.
 - 9) 厚生省児童家庭局長通知. 先天性代謝異常検査等の実施について. 日本マス・スクリーニング学会誌 1998; 8(Supplement 2): 93-94.
 - 10) 原田正平, 市原 侃, 新井純理, 他. 先天性副腎過形成症マス・スクリーニングのための適切な採血日齢の検討. 日本マス・スクリーニング学会誌 1994; 4: 69-76.
 - 11) 梅橋豊蔵. 濾紙血の採取法・採血時期・保存法. 日本マス・スクリーニング学会誌 1998; 8(Supplement 2): 24-27.
 - 12) 楠田 聡. 低出生体重児のマススクリーニング—採血時期について—. 周産期医学 2005; 35: 1218-1220.
 - 13) 梅橋豊蔵, 梅橋操子, 福士 勝, 他. 採血漏れをきたすような状況の調査結果について. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究 平成17年度総括・分担研究報告書 2006: 167-171.
 - 14) 大和田操. 新生児マス・スクリーニング検査. 小児科診療 2005; 68: 931-936.
 - 15) 原田正平. 現行マススクリーニングの問題点とその解決にむけて. 先天性代謝異常症等検査技術者研修会「これからの新生児マス・スクリーニング」 2004; 62-72.
 - 16) 原田正平, 渡辺倫子, 鈴木恵美子, 他. 外部精度管理が行われなくなった場合の新生児マススクリーニングでの「見逃し」数の試算とその社会的費用について. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究 平成17年度総括・分担研究報告書 2006: 139-142.
 - 17) 鈴木恵美子, 渡辺倫子, 前田昌子, 他. わが国のスクリーニング外部精度管理システムへのブラインドサンプル導入の検討. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) わが国の21世紀における新生児マススクリーニングのあり方に関する研究 平成17年度総括・分担研究報告書 2006: 172-174.
 - 18) 原田正平, 青木菊麿, 木下和子. 新生児マススクリーニングで発見された症例の追跡調査体制の再構築の手順. 厚生労働科学研究費補助金(子ども家庭総合研究事業) 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 平成16年度総括・分担研究報告書 2005: 117-119.

~~~~~  
 研 究  
 ~~~~~

小児慢性特定疾患治療研究事業における登録状況の解析

(横紋筋肉腫を例として)

梶村 智美¹⁾, 加藤 忠明¹⁾²⁾
 原田 正平¹⁾, 斉藤 進²⁾

〔論文要旨〕

小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）の登録状況に関して、従来より精度を高めて解析する手法を考案するため、平成10～15年度に登録された延べ2,368例の横紋筋肉腫患児について縦断的解析を行った。発症後1年未満に登録された患児の割合は81.9%であり、これは発症後に他の医療費助成制度を利用せずに、まず小慢事業に登録された割合と考えられる。横紋筋肉腫で新規申請した後に他の疾患名に登録し直した患児の割合は1.2%であった。今後は、国立成育医療センター内に構築される予定の慢性疾患登録データベースより、このような解析が他の疾患でも容易に実施できるようにしていきたい。

Key words：小児慢性特定疾患治療研究事業，横紋筋肉腫，全国的な登録，縦断的解析，医療費助成制度

I. 研究目的

小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）は平成17年度に法制化された¹⁾。500種類以上の小児慢性疾患に関して、全国規模の毎年約12万人分のデータが積み重ねられる貴重な研究事業である。その医療意見書に基づく全国的な集計解析は毎年、厚生労働科学研究として実施されている²⁾。

しかし、その登録データに関する従来の解析手法では、登録作業中に生じることのある欠損値を含む単年度ベースの解析が多く、二次調査をしないと精度を高められないなど、いくつかの問題点が残されていた。そこで、医療意見書の登録データをコンピュータ内で自動的に集計

解析することにより、少しでも精度を高めて登録データを容易に解析する手法を考案した。横紋筋肉腫患児について縦断的解析を行うことにより、小慢事業に登録される1年以上前に発症して他の医療費助成制度を利用していたと考えられる症例、また、経過とともに登録疾患名が変更になった症例を解析した。

II. 研究対象

平成10～15年度小慢事業に登録された延べ690,811人の中で、全国の横紋筋肉腫患児延べ2,368人について解析した。平成10～12年度は、全国すべての実施主体からの事業報告であった。平成13年度は、千葉市を除く86カ所の実施主体からの報告であった。平成14年度は、奈良

An Analysis on the Registration Status of the Medical Aid Program for
 Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories

Tomomi MASUMURA, Tadaaki KATO, Shohei HARADA, Susumu SAITO

1) 国立成育医療センター成育政策科学研究部（研究職/小児科医師）

2) 日本子ども家庭総合研究所母子保健研究部（研究職）

別刷請求先：梶村智美 国立成育医療センター研究所 〒157-8535 東京都世田谷区大蔵2-10-1

Tel : 03-3416-0181 Fax : 03-3417-2694

[1755]

受付 05. 9. 9

採用 06. 3. 8

市・倉敷市が追加された89カ所すべてからの報告であった。平成15年度は、さいたま市、川越市、船橋市、相模原市、岡崎市、高槻市が追加された95カ所のうち、京都府・京都市を除く93カ所からの報告であった。

Ⅲ. 研究方法

解析の際には以下の3点に配慮した。①文部科学省・厚生労働省の「疫学研究に関する倫理指針」（平成14年6月17日，平成16年12月28日全部改正）を遵守して施行した。②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（保護者）から得た。③集計内容には，自動計算された患児の発病年月齢や診断時の年月齢は含まれているが，プライバシー保護のため，患児の氏名や生年月日，また意見書記載年月日等は自動的に削除されている電子データを使用して解析した³⁾。データは小慢事業独自のID番号が付けられており，それをもとに各年度のデー

タを照合して個々の症例を縦断的に集計し，極力欠損値を減らしデータの精度を高められるように配慮して解析した。

横紋筋肉腫の平成10～15年度の新規登録例について，新規登録時年月齢と発症年月齢の関係を調べ，発症後1年未満で登録された人数，および1年以上経過してから登録された人数を集計した。また，横紋筋肉腫として新規登録された患児が，その後継続登録時に疾患名が変更された症例を解析した。

Ⅳ. 研究結果

1. 発症年齢

平成10～15年度の横紋筋肉腫新規登録例401人のうち，疾患登録時年月齢または発症時年月齢が不明であった20人を除く381人について，新規登録時年齢と発症年齢の関係を調べた（表1）。発症年齢は，1歳が45人（11.8%）で最も多く，次いで0歳40人（10.5%），2歳・

表1 新規登録時年齢と発症年齢（平成10～15年度）

	新規登録時年齢																				計		
	0歳	1歳	2歳	3歳	4歳	5歳	6歳	7歳	8歳	9歳	10歳	11歳	12歳	13歳	14歳	15歳	16歳	17歳	18歳	19歳	20歳	(人)	(%)
0歳	24	7(7)	4	2		1	1	1														40	10.5
1歳		30	3(3)	1	1	1			1					1	1							45	11.8
2歳			22	5(3)	4	1	1	1				1			2			1				38	10.0
3歳				28	7(6)	1		2														38	10.0
4歳					17	9(5)			1		1					1						29	7.6
5歳						13	1(1)			1				1		1						17	4.5
6歳							17	1(1)			1	2										24	6.3
7歳								11	3(2)					1		1	1					18	4.7
8歳									7	1(0)			1				1			1		11	2.9
9歳										10	1(2)						1					12	3.1
10歳											8	1(1)	1	1								14	3.7
11歳												6	3(3)									9	2.4
12歳													6	5(5)	1	1						15	3.9
13歳														12	7(7)							19	5.0
14歳															10	4(4)	1	1				16	4.2
15歳																16	2(1)					18	4.7
16歳																	8	1(1)				9	2.4
17歳																		8	1(1)			9	2.4
18歳																						0	0.0
19歳																						0	0.0
20歳																						0	0.0
																					計381人 不明 20人	100.0	

注) () 内の人数は，発症年齢と新規登録時年齢は異なるが，発症後1年未満に登録した人数

3歳各々38人(10.0%)の順であった。乳幼児の発症が多く、他の調査結果とほぼ同様であった⁴⁾。

2. 発症から登録までの期間別の登録数

発症後1年未満、および1年以上経過してから登録された人数は、全体ではそれぞれ312人(81.9%)、66人(17.3%)、不明3人(0.8%)であった(図1)。発症年齢別では、9歳以降の発症例に発症後1年未満に登録された人数の割合が高く、11、13、15~17歳発症例では100%であった。低年齢での発症例では発症後1年未満に登録された人数の割合が低い傾向にあり、0~8歳の発症例では64~90%であった。

3. 疾患名の変更症例

平成10~15年度に横紋筋肉腫として新規登録された401人のうち、その後5人(1.2%)が診断を変更していた。変更後の疾患名は、悪性リンパ腫2人(新規登録8か月後、11か月後)、Ewing肉腫2人(同1か月後、8か月後)、悪性骨腫瘍1人(同11か月後)であった(表2)。

V. 考 察

1. 小慢事業の登録率と問題点

小慢事業に登録された場合、医療費助成を得られるという利点があり、比較的多くの患児が登録されている。大阪府地域がん登録において、小児がん全体では、小慢事業を情報源とした登録率は74.6%であり、医療機関からの自主届出

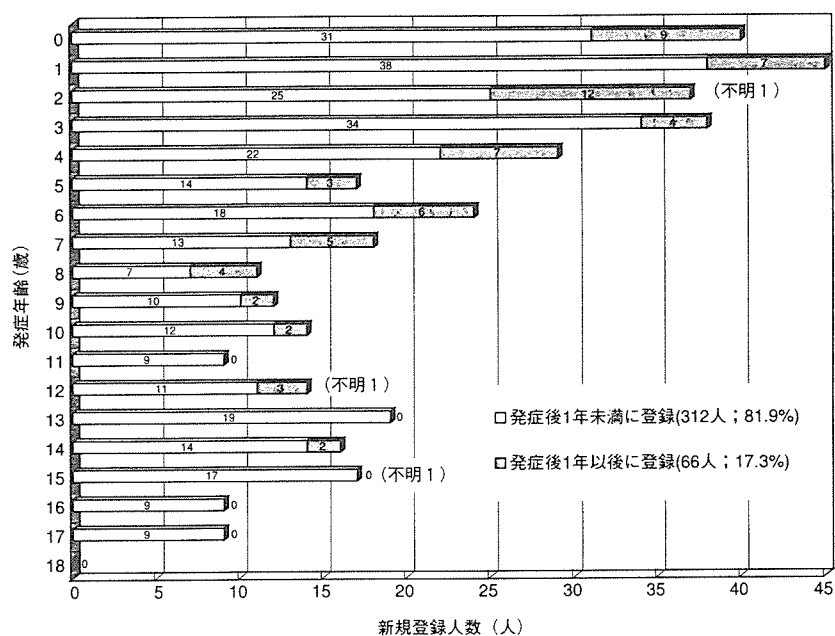


図1 H10~15新規登録例について、発症年齢ごとの発症後1年未満・以後の新規登録人数

表2 横紋筋肉腫新規登録者のうち疾患名に変更があったもの

発症年月齢	記入年月齢		変更時年月齢	新・疾患名
3歳0か月	3歳1か月	→	4歳0か月(11か月後~)	悪性リンパ腫
16歳0か月	16歳1か月	→	16歳9か月(8か月後~)	悪性リンパ腫
2歳9か月	3歳2か月	→	3歳3か月(1か月後~)	Ewing肉腫
3歳7か月	3歳8か月	→	4歳4か月(8か月後~)	Ewing肉腫
9歳7か月	9歳11か月	→	10歳10か月(11か月後~)	悪性骨腫瘍

などの各種情報源の中で最もその貢献度が大きかった⁵⁾。

しかし、小慢事業に新規登録される対象患児には3つの問題点、すなわち研究の資料にすることへの非同意者が含まれない点、また他の医療費助成制度利用者が含まれない点、そして経過中に他の疾患名に変更する患児がいる点が存在する²⁾。非同意者の問題に関しては、平成15年度に横紋筋肉腫を含む「悪性新生物」の非同意割合(非同意者数/全申請数)が7.2%であり、非同意者数の把握が可能になったので問題点は改善した²⁾。単年度の登録数が全申請数の(100-その年の非同意割合)%にあたり、これにより非同意者数を算出できる。そこで、本研究では後二者の問題点について検討した。既存の資料をもとに、それらの問題点を少しでも解消するための手法をどのようにしたら効果的か、横紋筋肉腫を一例として検討した。

発症後1年未満に登録された患児の割合は81.9%であった。公的な医療費助成制度は、通常重複しての申請は認められず、また、年毎に申請させる制度であることを考慮すれば、この81.9%は発症後他の医療費助成制度に再申請することなく小慢事業に登録された患児の割合と考えられる。発症後1年以上経過してから登録された患児の割合は17.3%であり、高額な医療費を要することを考慮すれば、小慢事業以外の医療費助成制度を利用していた割合と考えられる。

2. 小慢事業と乳幼児医療費助成制度

8歳以下での発症例は、発症後1年以上経過してから登録された人数の割合が比較的高かった。これは乳幼児医療費助成制度(以下、「乳」制度)を利用していたためと考えられる。「乳」制度は市区町村事業であり、地域によって対象年齢が異なり、所得制限があったり入院のみを対象としていたり大きな差がみられ、また年毎に助成範囲が拡大される傾向にある。厚生労働省「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」の平成13年の資料によれば、全国的に「乳」を利用している割合は、3歳未満児が入院ほぼ100%、通院約95%、6歳未満児は入院約60%、通院約30%であっ

た⁶⁾。小慢事業の法制化に伴い一部自己負担の導入がなされたことにより、「乳」制度など他の医療費助成制度を利用する患児家族が増加する可能性がある。それらの利用状況を把握する必要性がさらに増加する。小慢事業の対象疾患の中で、継続して登録されやすい疾患に関しては、表1のような解析により「乳」制度の利用状況のある程度把握できると考えられる。

3. 疾患名の変更症例

横紋筋肉腫で新規申請した後に他の疾患名に登録し直した患児の割合は1.2%であった。医療費助成を得るために診断が確定されないうちに申請される患児がいるので、診断の信頼性をチェックする何らかの仕組みを検討する必要がある。

4. 今後のあり方

現在の小慢事業では、毎年度、実施主体から厚生労働省に電子データが送られるので、そのデータをもとに個々の疾患を縦断的に解析するのは労力を要する。しかし今後は、国立成育医療センター内に専用のサーバーを置いて、子どもの病気に関するデータベースを構築する予定であり⁷⁾、その中で多くの小児慢性疾患に関して一人ひとりの患児のデータを縦断的に積み重ねて、医療意見書の登録データをコンピュータ内で自動的に集計解析することによって、少しでも精度を高めた解析を容易に実施できるようにしていきたい。

コンピュータ内の自動的、縦断的解析は、新規登録者では、他の医療費助成制度利用者の推計、また疾患名の変更症例の把握に役立つ。また継続登録者では、継続が中断された症例を自動的に抽出して二次調査を行うことにより患児の転帰を把握できる。今後の小慢事業の登録データの利活用が期待される。

VI. 結 論

- ① 横紋筋肉腫において、81.9%が発症後1年未満に小慢事業に登録されていた。
- ② 発症後1年以上経過してから登録された低年齢発症例の多くは、乳幼児医療費助成制度を利用していたと考えられる。

- ③ 小慢事業で横紋筋肉腫として登録後に、悪性リンパ腫、Ewing肉腫など他の疾患名へ変更した患児の割合は1.2%であった。
- ④ 慢性疾患のある子どもを疫学的に解析するためには、非同意者の把握、他の疾患名へ変更した患児の把握の他、乳幼児医療費助成制度などの他の医療費助成制度の利用状況を把握する必要がある。
- ⑤ 小慢事業対象疾患に関するコンピュータ内の自動的、縦断的解析は、新規登録者では、他の医療費助成制度利用者の推計、また疾患名の変更症例の把握に役立つと考えられる。

謝 辞

本研究は、厚生労働科学研究子ども家庭総合研究事業の資料の一部を再集計したものである。厚生労働省や実施主体の担当者、また医療意見書を記載された現場の医師など多くの関係各位に深謝いたします。

参 考 資 料

- 1) 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.
- 2) 加藤忠明, 柳澤正義, 別所文雄他. 平成14, 15年度小児慢性特定疾患治療研究事業の全国登録状況. 平成16年度厚生労働科学研究「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」報告書, 2005: 9-30.
- 3) 加藤忠明, 柳澤正義, 齊藤 進, 他. 疾患の登録・集計システムの在り方. 平成9年度厚生省心身障害研究「小児慢性特定疾患治療研究事業の評価に関する研究」報告書, 1998: 28-59.
- 4) 大平陸郎. 軟部組織腫瘍. 柳澤正義監修. 小児慢性特定疾患治療マニュアル. 東京: 診断と治療社, 1999: 26-27.
- 5) 味木和喜子, 津熊秀明, 大島 明. わが国における小児がん登録の実現に向けて—地域がん登録からの提言—. 小児がん, 2002; 39(2): 150-158.
- 6) 加藤忠明: 公費負担制度. 五十嵐 隆, 渡辺 博, 田原卓浩編. 小児科研修医ノート. 第1版. 東京: 診断と治療社, 2003: 151-153.
- 7) 平成17年度厚生労働科学研究(子ども家庭総合研究事業)「子どもの病気に関する包括的データベースの構築とその利用に関する研究」報告書(主任研究者: 原田正平), 2006; 作成中.

[Summary]

Registered rhabdomyosarcoma patients in Japan (2,368 patients from 1998 to 2003) in the Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories were analysed longitudinally to increase the accuracy of the research method. Eighty two percent of the patients registered in less than one year after being diagnosed of the disease. These patients are considered to be registered in the Program without using the others. The rate of patients who first registered as rhabdomyosarcoma but changed to other diseases was 1.2%. Similar analysis are hoped to be done for many other diseases, by using the data base which is to be considered in the National Center for Child Health and Development.

[Key words]

Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories, Rhabdomyosarcoma, Nationwide Registration, Longitudinal Analysis, Medical Aid Program

法制化された小児慢性特定疾患治療研究事業について

A Study on the Legislated Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories

加藤 忠明

Tadaaki Kato

抄 録

2005年度以降、児童福祉法に基づく安定化された事業となった小児慢性特定疾患治療研究事業（小慢事業）の現状をまとめ、今後の展望を考察した。患児家族に対する医療費助成の視点からは、①キャリアオーバー対策、及び②皮膚疾患対策が課題である。また、全国的な治療研究の資料として小慢事業を利活用するためには、③縦断的データの蓄積と解析、④患児の転帰の把握、⑤非同意者の問題解決、そして⑥情報公開の推進を図りたい。

はじめに

慢性疾患のある子どもは、最近10～20年の医療技術の向上に伴って、死亡することが少なくなった反面、その療養が長期化して、心身面での負担は増加している¹⁻²⁾。一般の子どもたちの中で、気管支喘息の子どもは約5%、てんかんは約1%いるし、また、約1%の子どもは心臓に奇形をもって生まれてくる。

子どもが慢性疾患に罹ることは、本人や家族の責任ではなく、様々な負担を患児家族のみに負わせるのは問題である。そこで、患児家族が社会の構成員として、社会と関わりながら生活できるように、行政上の制度として設けられたのが小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）である³⁾。

小慢事業は、患児家族の医療費の負担を軽減すると共に研究の推進を図る事業として1974年に整備された。当初は、患児家族に対して医療費を補助することが主な役割であった。その後1998年に、患児家族が申請する際に必要な

医療意見書の書式が全国的に統一され、患児家族の同意を得た上で、その医療意見書の内容が電子データとして入力・集計されるようになった。その電子データは現在、厚生労働省に集められて全国集計され、各種の研究の推進が図れるようになってきている。また、小慢事業は、1974年の厚生省（当時）事務次官通知に基づく国の補助金事業であったため、毎年の補助金削減により縮小される危険性があったが、2005年度以降、児童福祉法に基づく安定化された事業となっている。

小慢事業の実施主体は都道府県・指定都市・中核市である。法制化に伴って対象疾患は、若干見直され11疾患群、514疾患となっている。治療が長期にわたり医療費が高額となる疾患を対象としている。患児家族の所得に応じた若干の自己負担はあるものの、健康保険等の自己負担分が補助される事業である。

I. 研究目的

慢性疾患のある子どもは、社会生活の中でいろいろな制限があるかもしれないが、根拠のない制限や特別扱いは、子どもにストレスを与える。また、皆と同じでいたいという気持ちから子どもが無理な行動をして、結果的に病気を悪化させることがある。したがって、周囲の人々が子どものおかれている状況を正しく理解することが大切である。

元気に見えるのに、なぜ校内清掃ではいつも軽い作業を割り当てられるのかなど、その理由が周囲に伝わっていないと誤解される。周囲の誤解は子どもを孤独に追い込んだり、いじめにつながることもある。逆に、身近な仲間が病気を理解し支えてくれることは、子どもにとって何よりの励ましである。また、仲間にとっても助けを必要とする友達を支える経験を積むことは、人間としての資質を高める上で重要な体験となる。このような相互理解と助け合いの雰囲気は社会の中で自然に生まれるように配慮することが大切である。

それらを行政的に支援する事業が小慢事業であり、2005年度以降、法制化された事業として運営されているので⁴⁾、現状をまとめて今後の展望を考察した。

II. 研究方法

2005年度以降の新たな小慢事業は、厚生労働省が全国の実施主体に2005年2月に電子配信した内容に基づいている。その内容はホームページ、すなわち国立成育医療センター成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui0.htm>」、及び、日本子ども家庭総合研究所母子保健研究部「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」に掲載されている。その内容を基に様々な専門家と検討した。

III. 結果

1. 新たな小児慢性特定疾患対策の確立

小慢事業は2005年度以降、次世代育成支援の観点から子育てしやすい環境の整備を図るため、従来の事業を見直すとともに、小児慢性特定疾患のある患者に対する安定的な制度として改善・重点化を行っている。併せて福祉サービスの充実を図っている。

対象患者の重点化を図るため、一定の対象基準を設けている。従来は、通院が対象でない疾患群が存在したが、全ての疾患群で通院患児も対象としている。対象年齢に関しては、新規認定は18歳未満とし、18歳到達後もなお改善傾向が見られない場合は、疾患にかかわらず20歳未満まで対象としている。そして、他のほとんどの公費負担医療が患者に一部自己負担を課しているため、その状況との均衡を考慮して、小慢事業としては初めて費用徴収が導入されている。ただし、子育て家庭の家計へは配慮勘案して、階層区分による負担限度額を設定し、低所得者と認められる市町村税非課税世帯には負担を免除している。

2. 対象疾患と対象者の見直し

従来の小慢事業の対象疾患を基本として、今日の医学的所見に基づき、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、①慢性疾患であることを前提として、②生命を長期にわたって脅かす疾患であるか、③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、④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、などを考慮した。そして、他の公費負担医療で対象となりうるか等の適応状況を考慮して、厚生労働省の予算の範囲内で対象疾患の見直しを行った。それらの観点から、新たに40疾患を対象疾患として追加した。

医学的見地から、基本的に急性の経過をたどる、または症状が軽微な10疾患を対象から除外した。また、現在は使用されていない疾患名や不正確また不適切な疾患名を整理するととも

に、5疾患名を除外した。そして対象疾患は現在、厚生労働大臣告示によれば計514疾患となっている。

対象疾患を適切な疾患群に分類することにより、医学的な整合性が図られている。具体的には、従来「先天性代謝異常」に区分されていた消化器疾患に新たな疾患が追加され、「慢性消化器疾患」群が創設され、11疾患群となっている。また「ぜんそく」群に新たな疾患が追加され「慢性呼吸器疾患」群に、そして「血友病等血液疾患」群は「血友病等血液・免疫疾患」群に名称変更されている。

対象者の認定基準の策定に当たっては、重篤な慢性疾患の患者を基本として、支援の必要性を考慮し、疾患の特性に合わせて、症状、検査値、治療内容等による簡便な認定基準が策定されている。具体的な個々の対象疾患に関する認定基準に関しては、国立成育医療センター成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/hayamihyou/hayamihyoumokuji.htm>」、及び、日本子ども家庭総合研究所母子保健研究部「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」のホームページに掲載されている。

Ⅳ. 考 察

新たな小慢事業は、治療研究が必要な患児に医療費助成を公平に行う安定化された制度となっているが、患児家族に対する医療費助成の視点からは大きく2つの問題点が残されている。1つ目は、患児が20歳以降になった場合のキャリアオーバー対策をどうするかであり、2つ目は、より多くの皮膚疾患を対象にするべきではないか、という点である。

また、全国的な治療研究の資料として小慢事業を利活用するためには、登録された疾患情報が正確でなければならない。しかし、申請する患児家族の立場からは、正確に診断される以前に、少しでも早く医療費の助成を受けたい。また、申請手続きが複雑な小慢事業ではなく、1枚の医療券があれば無料で治療を受けられる乳幼児医療費助成制度を利用したい。さらに、医

療費の助成は受けたいが、研究目的で医療意見書を使用することに同意できない方もいる。

したがって、それらを十分配慮して治療研究を推進するため、また、登録データの精度を向上させるためには、以下4つの課題を解決していくことが望まれる。1つ目は、個々の疾患情報を縦断的に積み重ねて正確な登録データを構築することであり、2つ目は、継続登録されなくなった患児の転帰を調査することであり、3つ目は、研究利用に対しての非同意者のデータに関して個人を全く特定できない統計資料だけは厚生労働省が把握・集計することであり、4つ目は、同意を得られた患児の疾患情報は個人情報保護への十分な配慮を前提として情報公開することである。

1. キャリーオーバー対策の必要性

医療の向上等とともに子どもの慢性疾患の死亡率は激減し、慢性疾患のある患児の多くは成人に達している。その成人になった患者に対する適切な医療・福祉・労働施策の確立が必要である。

医療費助成が打ち切られる20歳になったら、病気が軽快または治癒するわけではない。成人に達しても病気のために仕事に従事できず、また結婚できずに、親と同居して親の世話になっている患者は多い。また、たとえ仕事に従事できても、身体障害があったり、治療に時間を取られたり、各種の事情により収入の少ない方が多い。疾患や障害があるための社会的な偏見や就労不安、また親の高齢化に伴う経済的かつ日常生活上の不安はつきない。にもかかわらず医療の進歩に伴って医療費が高額になる場合があるので、様々な社会的支援が必要である。

たとえば、1型糖尿病の場合、血糖値を測定しながら、通常1日4回インスリンの注射を毎日一生打ち続けなければならない。インスリン注射により血糖値がコントロールされていれば、ほぼ普通の生活は可能であるが、職場で毎日注射し、万一低血糖などの副作用が生じた場合に適切に対処できるようにするためには職場の理解が欠かせない。また、それらの医療費が

健康保険を利用しても月1～2万円は必要である。インスリンを注射するための医療費が払えず、注射できなくなれば確実に死亡してしまう。そして、災害時も確実に注射できるように日頃から準備しておかなければならない。

2. 皮膚疾患対策の必要性

小慢事業では主として子どもの内科的な疾患を対象にしている。小慢事業以外の医療費助成制度としては、大人も含めた内科疾患は特定疾患治療研究事業、一時的な治療により軽快・治癒する主として外科的疾患は育成医療、未熟児は未熟児養育医療、乳幼児は乳幼児医療費助成制度が存在する。しかし、その狭間の中で、それら各種の医療費助成制度において比較的对象外になりやすい疾患が皮膚疾患である。

皮膚疾患は見た目が悪いために、社会的な偏見の対象、また、いじめの対象になり、通常の日常生活上、QOL（生活の質）が良くない場合が比較的多い。新たな小慢事業でも対象となっている皮膚疾患が少ないので、より多くの皮膚疾患を対象にするべきではないか、という意見がある。厚生労働省としては、これらの皮膚疾患患者に対して行政上、効果的な施策をどのように実施するかが、今後の重要課題である。

3. 縦断的データの蓄積の重要性

個々の患児の疾患情報を縦断的に積み重ねることにより、従来より正確な登録データを構築できる。複数のデータをチェックすることで、以前に入力したミス等を発見することもあるし、患児の経過・予後が判明する。疾患によっては経過とともに正確な診断名に変更される患児もいる。

また、医療費助成制度の中で、未熟児養育医療や乳幼児医療費助成制度には年齢制限があるので、慢性疾患のある患児は治癒しなければ、特定の年齢に達してから小慢事業に新規登録される。発病年齢と新規登録年齢に差があれば、それらの医療費助成制度を利用していたことが推測される。

4. 転帰の把握の重要性

特定の治療を行った結果、治癒したのか死亡したのかによって、その治療の効果が判明するので、慢性疾患の治療研究を推進させるためには、転帰の把握はどうしても必要である。しかし、新たな小慢事業でも継続登録されなくなった患児の転帰（治癒または死亡したか、障害が残ったかの最終的な経過）は不明である。

そこで、縦断的にデータを蓄積する中で、継続登録されなかった症例に対しては、転帰がどうなったのか2次調査することが望まれる。コンピュータに入力・登録すると自動的にその症例が選別されて調査可能になるようにしたい。

5. 非同意者の問題解決

小慢事業の中で研究利用に対して非同意者のデータは、従来、疾患群ごとの人数しか厚生労働省として把握していなかった。新たな小慢事業では、実施主体ごとのデータに関して個人を全く特定できない統計資料（疾患名、男女、新規・継続・転入、登録時の年齢）だけは厚生労働省が把握・集計できる様式になっている。このことが問題なく運営されることが望まれる。

6. 情報公開の原則

小慢事業の中で研究利用に対して同意を得られた患児の疾患情報は、全国的な貴重な資料であり、個人情報保護への十分な配慮を前提として情報公開することが望まれる。厚生労働科学研究子ども家庭総合研究事業の中で実施された集計結果等は、研究報告書に掲載されるとともに、国立成育医療センター成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/shoumann.htm>」、及び、日本子ども家庭総合研究所母子保健研究部「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」のホームページに掲載されている。今後も縦断的に積み重ねられた集計結果が適切に情報公開されることが大切である。

また、小慢事業の運営上必要な情報に関して、国や地方自治体への情報提供の他、各疾患に関する専門医への情報提供、親の会等への医療機関名の情報提供、そして保険会社等への各疾患

に関する情報提供が、個人情報保護を前提として広く行われることが望まれる。

謝 辞

この研究は、厚生労働科学研究費補助金「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」及び「子どもの病気に関する包括的データベースの構築とその利用に関する研究」から助成された研究であり、多くの資料を、また数々のご助言をいただいた研究班員、そして厚生労働省や地方自治体の多くの担当者に深謝いたします。

【参考文献】

- 1) 加藤忠明：難病の子どもに対する一般社会の理解の必要性. 和泉短期大学研究紀要、2004、第24号：47～51
- 2) 加藤忠明、西牧謙吾、他編著：すぐに役立つ小児慢性疾患支援マニュアル. 東京書籍、2005、1～185
- 3) 厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課：「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」報告書. 2002、1～9
- 4) 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



小児慢性特定疾患治療研究事業と その制度改正

加藤 忠明*

要 旨

1974年に整備された小児慢性特定疾患治療研究事業は、当初は医療費助成が主であったが、1998年度にその登録様式が全国的に統一され、医療意見書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・集計して全国的に登録・管理する方式になった。さらに2005年度以降は、児童福祉法第21条の9の2に基づき、慢性疾患に罹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など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などに資する医療の給付その他の事業を行うこととなった。対象患者は、公平性を保つため、一定の対象基準を満たした場合、入院院とも、また継続申請は20歳未満まで対象とした。併せて福祉サービスの充実を図った。

I. 小児慢性特定疾患治療研究 事業の経過

1. 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9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。

2. 全国的な登録開始

小慢事業での医療費助成は、1995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

* Tadaaki KATO 国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部
[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

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（都道府県，指定都市，中核市）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，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，医療機関名も入力できるソフトにした⁴⁾。

3. 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，病氣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付ける「児童福祉法」一部改正案が国会で2004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年2月10日の官報に載り，同年4月1日から実施された。

II. 小児慢性特定疾患治療研究事業の見直しの経緯

小慢事業の法制化に伴う対象疾患および認定基準案の策定にあたって，厚生労働省は以下のような検討会および研究班などを開催した。

1. 小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会⁵⁾

2001年9月から2002年6月まで10回にわたり，小慢事業について今日的視点で見直しを行うため，「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」が開催された。小児科医のほか，日本医師会，保健・看護，教育，親の会，マスコミ，地方行政の代表者が

参加して，公開の場で議論が行われ，その一人ひとりの発言内容は厚生労働省のホームページに載った。

2. 小児慢性特定疾患についての有識者による意見交換会

上記1の検討会に参加した医師メンバーから構成される「小児慢性特定疾患についての有識者による意見交換会」において，厚生労働省の担当者と適宜，意見交換を行った。このなかで，新たな小慢事業における対象疾患および対象基準策定に関して，具体的また詳細な議論を行った。

3. 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⁶⁾

厚生労働科学研究(子ども家庭総合研究事業)「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」において調査・解析を行った患者の全国登録状況や医療意見書記載データなどをもとに，疾患の認定基準および重症者基準の原案などに関して検討した。この研究班には，小児医療各分野の専門家が参加していることから，研究の実施と平行して各疾病分野の専門家にご意見をいただき，対象疾患の精査を行った。

4. 「難病の子ども全国支援ネットワーク」参加者・家族団体

「難病の子ども全国支援ネットワーク」に参加・協力する患者・家族団体からは，上記1の場でご意見をいただいた。そして，2002年7月より厚生労働省は，各団体に対し適宜，対象疾患や対象基準などに関する説明を行う機会を設けた。その他，適宜，個別の団体からの陳情などにも対応した。

III. 小児慢性特定疾患治療研究事業の見直しの基本的考え方

上記の経緯により，小慢事業の見直しに関す

る基本的考え方は以下の通りとなった。

① 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う。

② 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う。

③ 基本的に ICD 10 (悪性新生物のみ ICD-O) コードで使用されている疾患名を使用し、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る。

④ 対象疾患ごとに認定基準を厚生労働大臣告示で示す。

IV. 新たな小児慢性特定疾患対策の確立

次世代育成支援の観点から子育てしやすい環境の整備を図るため、小慢事業を見直すとともに、小児慢性特定疾患（以下、小慢疾患）のある患者に対する安定的な制度として改善・重点化を行った。対象患者は、公平性を保つため一定の対象基準を満たした患者について、入通院とも対象とした。併せて福祉サービスの充実を図った。これらに伴って国庫負担額は、2004年度の96.5億円から2005年度は128.2億円に増加した。

これらの内容は、「新たな小児慢性特定疾患対策の確立について」(雇児発第0221001号)、および「小児慢性特定疾患児日常生活用具給付事業の実施について」(雇児発第0221002号)として、厚生労働省雇用均等・児童家庭局長が全国の実施主体に2005年2月21日に通知した。また、成長ホルモン治療に関しては「小児慢性特定疾患治療研究事業の適正化について」(雇児母

発第0221001号)、血友病などに関しては「新たな小児慢性特定疾患対策の実務上の取扱い等について」(雇児母発第0221002号)として、同日、厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課長が通知した。そして、主要な質問に対する回答例として「小児慢性特定疾患治療研究事業Q & Aの送付について」が、同日、事務連絡として示された。

その後、従来の早見表に代わる内容が、2005年3月に厚生労働省から全国に電子配信された。これに載っている対象疾患および対象基準は、今日の医学的知見に基づき、①慢性に経過する疾患であるか、②生命を長期にわたって脅かす疾患であるか、③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、④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た。

以上の詳細に関しては、厚生労働省のホームページのほか、国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui0.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>」を参照されたい。

新たな小慢疾患対策に関しての主な改善・重点化内容は以下の通りである。

1. 法的な位置づけ

小慢事業は、従来は法的根拠のない事業であったが、児童福祉法第21条の9の2に根拠規定を設けて制度の安定化を図った。

2. 対象疾患群と対象疾患の見直し

従来、「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)に別の疾患を追加し、新たな「慢性消化器疾患」群を創設したので、10疾患群から11疾患群になった。また、「ぜんそく」疾患群に新たな疾患を追加し、「慢性呼吸器疾患」群と名称を変更した。そして、「血友病等血液疾患」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」群とした。

対象疾患数は、従来の課長通知の488疾患か

ら、大臣告示では514疾患に増えた。

3. 対象患者の重点化

対象者の認定基準の策定に当たっては、重篤な慢性疾患の患者を基本として、支援の必要性を考慮した。疾患の特性に合わせて、症状、検査値、治療内容などによる簡便な認定基準を策定し、一定の基準により対象者の重点化を図った。

4. 通院拡大

従来、1カ月以上の入院のみ対象としていた疾患群が存在したが、すべての疾患群において、入通院とも対象とした。

5. 対象年齢の延長

従来、対象年齢が18歳未満の疾患と20歳未満のものが存在したが、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歳未満までとした。

6. 福祉サービス

小慢疾患児養育経験者などによる相談事業（都道府県事業）や、患者に対する日常生活用具の給付（市町村事業）を行う福祉サービスを実施した。

7. 費用徴収

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、小慢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を設定した。ただし、低所得者に配慮し、市町村税非課税世帯は負担を免除した。また、医療機関、地方公共団体の事務負担軽減なども考慮し費用徴収の階層区分を簡素化した。

V. 小児の慢性疾患の頻度⁷⁾

比較的多くの子どもたちが各種の慢性疾患に罹患しながら、一般社会のなかで暮らしている。全国的に幼稚園児や小中学生は、2000～2001年度小慢事業に約200人に1人の割合で登録され

ていた。5～9歳児人口1,000対4.9、10～14歳児人口1,000対5.0であった。

15歳未満の小児癌患児は1,004人に1人、15歳未満の小児内分泌疾患患児は765人に1人の割合で生活していると推計された。また、成長ホルモン分泌不全性低身長症は10～14歳児の964人に1人、1型糖尿病は10～14歳児の4,509人に1人、若年性関節リウマチは5～14歳児の約1万人に1人、胆道閉鎖症は約1万人に1人、血友病Aは約2万人に1人であった。国の小慢事業以外の登録も含めると、幼児の約5%が気管支喘息に、また、幼稚園児や小中学生の約200人に1人が慢性心疾患に罹患していると推計された。

VI. 小児慢性特定疾患治療研究事業による登録人数⁶⁾

1998年度から全国で使用されている小慢疾患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2004年8月中旬までに事業報告が行われ、延べ641,134人分の資料が疫学的、縦断的に解析された。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、患児の氏名や生年月日、意見書記載年月日などは自動的に削除されている。

1. 年度別登録人数

1998年度、1999年度、2000年度小慢事業の資料は、すべての実施主体から事業報告があり、全国延べ各々106,790人分、115,893人分、120,652人分であった。

2001年度は、全国87カ所の実施主体のうち86カ所から事業報告があり、延べ116,685人（成長ホルモン治療用意見書提出例10,232人は

重複して算出)分であった。2002年度は、全国89カ所の実施主体のうち86カ所から事業報告があり、延べ112,021人(成長ホルモン治療用意見書提出例9,829人は重複して算出)分であった。2003年度は、全国95カ所の実施主体のうち44カ所から事業報告があり、延べ69,093人(成長ホルモン治療用意見書提出例5,417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ていた。したがって、小慢疾患の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。

2. 疾患別登録人数

2002年度全国で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い順に、成長ホルモン分泌不全性低身長症11,804人、白血病6,684人、甲状腺機能低下症5,979人、気管支喘息*5,608人、1型糖尿病3,708人、脳(脊髄)腫瘍3,633人、ネフローゼ症候群*3,127人、甲状腺機能亢進症3,105人、神経芽腫2,816人、川崎病*2,461人(冠動脈瘤・拡張症・狭窄症を含めると3,924人)、心室中隔欠損症*2,345人、血管性紫斑病2,259人、思春期早発症2,145人、若年性関節リウマチ2,081人、胆道閉鎖症2,019人、慢性糸球体腎炎*1,974人、悪性リンパ腫1,374人、血友病A1,256人、慢性甲状腺炎1,102人、ターナー症候群1,093人、水腎症*1,053人、2型糖尿病1,042人、網膜芽細胞腫1,042人であった(*を記した疾患は、1カ月以上の入院が対象であるため、登録人数は実人数より少ない)。

3. 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。2002年度は、一部の実施主体から疾患群ごとの非同意者数の報告があり、その割合は、25カ所の平均が1.1%、8カ所の平均が11.3%、33カ所全体とし

て平均3.2%であった。

非同意者に関しては、患児家族に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ホームページ(厚生労働科学研究成果データベース「<http://webabst.niph.go.jp/>」、国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/shoumann.htm>」、日本子ども家庭総合研究所「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」)に公表した。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た。

4. 小児慢性特定疾患治療研究事業の有用性

10疾患群ごとの解析結果に関しては、高い登録率と登録データの精度の向上によって小慢事業の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、Ewing腫瘍の頻度が高かった。欧米諸国との比較では、神経芽腫の頻度が高く、悪性リンパ腫、とくにホジキン病が低かった。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。フェニルケトン尿症は推計88%が小慢事業に登録されており、先天性代謝異常は全国規模の疾患別患者数をかなり把握できていると考えられる。

しかし、実施主体から送られてくる電子データのみでは信頼性に欠ける部分が残されている。そこで、今後はそこに載っている医療機関名を基に、必要に応じて登録疾患に関する2次調査や追跡調査を実施し、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バンクを中央で管理し、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療機関に提供するシステムを構築したい。

VII. 慢性疾患の子どもとその家族の要望⁵⁾

厚生労働省の検討会の報告書によれば、慢性疾患のある子どもとその家族の要望は、①より良い医療、②安定した家庭、③積極的な社会参加、の3つに集約されていた。

①は、さらなる研究の推進、診療の向上によって、より良い医療を受け、可能な限り治癒・回復を図ることである。法制化後の小慢事業によって改善させたい。

②は、家族がまとまりながら慢性疾患のある子どもを支えつつ、家族全員がそれぞれの人生を充実して送ることである。慢性疾患の子どもが心配なく療養を続けるために、家族が安定することが欠かせない。そのため、ケアの負担軽減や、きょうだいや家族の支援、職場での配慮が望まれる。

③は、慢性疾患のある子どもが教育や就職など、社会参加することである。本来、もって生まれた能力の可能性を十分に発揮したい、または、させたいという願望は、一般の子どもとその家族がもつもの以上に強い。教育は、学習の遅れの補完、学力の向上、積極性・自主性・社会性の涵養、心理的安定など、子どもが自立し社会参加していくために欠かせない。不必要な制限が行われたり、無理な活動を強いたりするなど不適切な対応を避け、疾患に応じた適切な支援、教育を受けられるようにしなければならない。

以上の要望は、慢性疾患のない子どもとその家族が、健康、安定した家族、社会参加を求めると同質である。一方、慢性疾患に罹ること

は、本人の責任ではなく、さまざまな負担を自らですべて負うことも困難である。慢性疾患のある子どもとその家族が社会の構成員として、社会と関わりながら生活できるように、一般の人々がその存在を正しく認知し、社会全体で支援するという気持ちをもつことが大切である。

慢性疾患児には、生活上の規制、運動制限など日常生活、学校生活の管理指導が重要な場合がある。しかし、子どものQOL（生命・生活の質）を高め、一人ひとりが生きる喜びをもてるようにしたい。同じ年齢の子どもが経験すること（いろいろな遊び、家庭生活、学習など）を可能な範囲で体験させたい。

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41：1487-1493，2000
- 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) 厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課：「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」報告書，2002
- 6) 平成16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），2005
- 7) 加藤忠明，斉藤 進：小児慢性特定疾患患者の登録割合，平成15年度厚生労働科学研究「小児慢性特定疾患患者の療養環境向上に関する研究」報告書（主任研究者 及川郁子），pp 5-9，2004

総説

わが国における小児期発症糖尿病の動向

—小児慢性特定疾患治療研究事業の電子データ解析—

杉原茂孝

論文要旨

わが国では、学校検尿によって、1型および2型糖尿病患者が毎年発見されている。しかし、その精密検査後の状況は、一部の地域を除き十分に把握されていない。

全国レベルで糖尿病患者の情報を得ることを目的として、小児慢性特定疾患治療研究事業(小慢事業)における平成14年度登録の電子データを中心に解析し、平成10~15年度までの結果と比較した。

日本全国の登録症例数は、平成14年は5,246例であった。平成10年から増加しているが、12年、13年とはほぼ同等である。男子よりやや女子の方が多。平成14年では、1型が3,708例(70.7%)、2型は1,042例(19.9%)であった。これらの比率は平成10~15年登録症例全体でも同様であった。1型の発病は、乳幼児期から13歳まではほぼ均等の分布であった。2型では、6歳以降増加するが、11~14歳にピークがある。1型も2型も15歳以後の発症例が少なかったが、この年齢での発症が確かに減少するのか、あるいは、小慢事業への登録が漏れているのか、今後検討する必要があると思われる。

その他、糖尿病のコントロール状況や合併症について検討した。その実態についてはさらに調査が必要と考えられた。

I. はじめに

学校検尿による尿糖スクリーニングによって、わが国では、2型糖尿病のみでなく1型糖尿病も毎年発見されている。とくに、2型糖尿

病は、東京、横浜などの一部の地域での学校検尿の結果から、肥満の増加に伴い近年急激に増加していることが指摘されている¹⁾²⁾。しかし、そのフォロー状況は、一部の地域を除き、ほとんど把握されていないのが現状である。小児期発症の糖尿病患者が、どのような頻度で発症し、現在どのように治療を受けているか、全国レベルでの調査が必要である。厚生労働省の研究班などでいくつかの調査研究が行われているが、難しい面もあり、全国レベルでの十分な情報は得られていない。

小児慢性特定疾患治療研究事業(小慢事業)は、医療費助成など患児家族への支援事業と登録データの解析など治療研究事業とから成り立つ事業として昭和49年から実施されている。平成10年からは、その医療意見書の内容をプライバシーの保護に十分配慮しながら、厚生労働科学研究(主任研究者:加藤忠明,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)班が、電子データとして集計・解析している³⁾。小慢事業の登録が正確に行われ、そのデータを解析することができれば、1型糖尿病および2型糖尿病の実態把握と今後の対策を考えるうえで非常に有用と考えられる。

II. 小慢事業に基づく糖尿病の疫学調査の方法と結果

平成10年、11年、12年、13年、14年に小慢事業に基づいて、コンピュータに登録された糖尿病の全症例、および平成15年度の一部の症例を対象とした。平成14年度登録の電子データを中心に解析し、平成10~15年度までの結果と比較

東京女子医科大学第二病院小児科

別刷請求先: 杉原茂孝 東京女子医科大学第二病院小児科 〒116-8567 東京都荒川区西尾久2-1-10

Tel: 03-3810-1111 Fax: 03-3810-0944