

平成 25 年度 厚生労働科学研究費補助金（成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業）  
「今後の小児慢性特定疾患治療研究事業のあり方に関する研究」  
分担研究報告書

法改正後の小児慢性特定疾患治療研究事業における認定審査体制に関する検討

研究分担者 森 臨太郎（国立成育医療研究センター 政策科学研究部長）

**研究要旨** 小児慢性特定疾患治療研究事業においては広範囲にわたる疾患に関して、各実施主体において対象の適否を適切に審査した上で登録されることとなっている。この実施主体における認定審査において、各疾患の専門家によるどのような支援体制が適切であるか、我が国の医療提供体制の特性に合わせて検討することを目的とした。

小児慢性特定疾患治療研究事業を公平・公正に運用するためには、正確な診断は必須である。このため公正な認定審査に資するためには、必要に応じた専門家集団による助言が不可欠である。一方、当該事業の各対象疾患に関する専門家集団は、疾患の特性からその規模も様々であり、一様な制度では機能しない。このため、実施主体および疾患群の特性に柔軟に対応できる支援体制の構築が望まれる。

**研究協力者:**

掛江 直子（国立成育医療研究センター保健  
政策科学研究室長）

盛一 享徳（国立成育医療研究センター政策  
科学研究部 研究員）

伊藤 秀一（国立成育医療研究センターリウ  
マチ・腎臓科医長）

日本小児科学会 小児慢性疾患委員会

も「関係学会等の協力を得て、疾患群ごとに認定審査の助言を受けられる専門医師を確保し、必要に応じてその意見を聴き、公平・公正な審査を行う。」と示された。

そこで、本研究では、各疾患の専門家によるどのような支援体制が適切であるか、我が国の医療提供体制の特性に合わせて検討することを目的とした。

**A. 研究目的**

小児慢性特定疾患治療研究事業においては広範囲にわたる対象疾患に関して、各実施主体（都道府県等）において、必要に応じて「小児慢性特定疾患認定審査会（仮称）」（以下「認定審査会」という。）等を設置し、対象の適否を適切に審査した上で認定されることとなっている。

この実施主体における認定審査においては、社会保障審議会児童部会 小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会による「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方」報告書（平成 25 年 12 月）で

**B. 研究方法**

小児慢性特定疾患においては、対象疾病の希少性に幅があるため、まず、背景を整理し、その上で 1) 実施主体毎に十分な専門家集団が確保されている疾患群（例：小児循環器系疾患）、実施主体毎に専門家集団は存在するものの、疾患群の中での各疾患の専門性が高いことにより横断的な連携が必要な疾患群（例：小児内分泌系疾患）、疾患毎の専門性が高く、希少性が高いために実施主体毎に専門家がそろわず、横断的な支援体制が不可欠な疾患群（例：先天代謝異常症）に分け、それぞれにおける理想的な支援体制を検討し、

さらに、我が国の医療計画（特に小児医療提供体制）等に基づき、本制度に汎用できる最適な支援体制を検討した。

さらに、2) 日本小児科学会小児慢性疾患委員会（日本小児科学会分科会ならびに小児慢性疾患の診療に関係する学会・研究会、計 17 団体からの代表委員にて構成される委員会。以下「小慢委員会」という。）における積極的な意見交換に基づく総意形成を行い、最終案を示した。

（倫理面への配慮）

本研究は理論的研究であり、公開されている情報のみを利用したため、特別な倫理的配慮は必要ないものと判断した。

### C. 研究結果

検討の結果は以下の通りである。

1) 小児慢性特定疾患治療研究事業を公平・公正に運用するためには、できるだけ正確な診断を期すことが望ましく、そのためには、各疾患の専門家がどのようにその診断や審査を支援していくかというのは大変重要な課題である。

現在、次のような支援体制が検討されている。

- ・原則、全国の実施主体毎に、「小慢認定審査会」を設置する。
- ・原則、各協議会には、各小慢疾患群を担当する、各専門学会より専門医を 1 名以上ずつ指名する。

一方で、本事業の対象疾患においては、疾患群毎に専門家の数に大きな差が存在する（表 1）。

また、本事業のそれぞれの疾患群において登録患者数と新規患者数は、表 2 の通りであり、さらに実施主体毎の各疾患群の登録者数は表 3 の通りである。

これらの疾患群毎の登録患者数の偏りを踏

まえ、まずは内分泌疾患、慢性心疾患、悪性新生物等の、申請数も多いが、比較的多くの専門家を有する領域の在り方を標準形として、次のように考えた。

1. 実施主体が独自に認定審査会を設置できない場合は、近隣の実施主体と合同での設置とすることができる。
2. 分科会が人員的にその実施主体に専門学会より専門医の指名ができない場合には、以下の 2 通りの選択肢がある。
  - 2-1. 認定審査を他の実施主体の専門学会の専門医に依頼する。（分科会専門医が複数の実施主体を担当）（資料 1-1）
  - 2-2. 別の疾患群の認定協議委員に認定審査を依頼し、その実施主体に助言する担当専門学会の専門医を指定する。（他疾患の専門医が複数の疾患群を重複して担当）（資料 1-2）

上記の 2-2.のように、他の領域の専門家を一義的な専門家として置きつつ、他の地域に住む専門家が実施主体を超えて専門家として貢献することができれば専門家が少ない場合でも、適切な専門的助言が受けられると考えられた。

他方、申請数は少ないが、専門家の数も少ない場合は、次に挙げるの 4 つの方法が考えられた。

〔その 1〕専門学会で全国をいくつかのブロックに分けて（分け方は任意）、各々のブロック毎の担当者を学会が任命する。担当者は毎月各実施主体開催の認定審査会に間に合うように「自分で直接」意見書の審査を行う。この場合、専門学会専門医の数が少なくても専門性を確保できる点が利点ではあるが、各担当者の負担が大きい点が欠点として挙げられる。（資料 2-1）

〔その2〕専門学会で全国をいくつかのブロックに分けて（分け方は任意）、各々のブロック毎の担当者を学会が任命する。担当者は、各実施主体に委託した認定委員からの疑義に答える。この場合、専門学会専門医の負担が小さくなるが、専門性が保てない怒れがあり、認定審査委員の負担が増える。（資料2-2）

〔その3〕専門学会内で全国一律に対応する。学会の担当者を「疾患群の細分類毎に」分けて（分け方は任意）、各々の細分類疾患の担当者を学会が任命する。担当者は毎月の各実施主体開催の認定審査会に間に合うように「自分で直接意見書の審査を行う。この場合、専門学会専門医の数が少なくても専門性を確保できる点が利点であるが、各担当者の負担が大きく、また各実施主体の認定審査業務が煩雑になる。（資料2-3）

〔その4〕専門学会内で全国一律に対応する。学会の担当者を「疾患群の細分類毎に」分けて（分け方は任意）、各々の細分類疾患の担当者を学会が任命する。担当者は各実施主体に委託した認定委員からの疑義に答える。この場合も〔その3〕同様、専門学会専門医の数が少なくても専門性を確保できるが、各担当者の負担が大きく、また各実施主体の認定審査業務が煩雑になる。（資料2-3）

2) 以上のような案を草稿案として策定した上で、小慢委員会において示し、検討を行った。

その結果、原則的には、各認定審査会において各疾患群の認定審査を担当する専門家を委員におくことが望ましいが、地域の状況に合わせて、1. 近隣の実施主体と合同で認定審査会を設置したり、2-1. 他の認定審査会の委員に協力を仰いだり、2-2. 他疾患群を担当している認定審査会委員に協力を依頼し、必要に応じて専門家の supervise を求める方法等で、柔軟に対応していくことが重要であると考え。また、専門家が少ないために認定審査会外部に supervise を求める場合には、前

述の〔その3〕もしくは〔その4〕による中央コンサルテーションが現実的ではないかとの結論に至った。（ちなみに、その1およびその2に示されたブロック単位での認定審査については、行政的に実現が困難であろうことから、今回の提案としては却下された。）

#### D. 考察

このような実施主体や専門学会による各々の事情を踏まえ、柔軟に対応しつつ、実施主体毎に適切な専門的助言が受けられるような体制が望まれており、前述の案を包含しつつ、資料3のような方向性が示された。

この提案では、当該事業における認定審査を行う「小児慢性特定疾患認定審査会」は、実施主体毎もしくは複数の実施主体にて有することができ、また前述の2-1および2-2のように、疾患群毎の専門医の状況に応じて柔軟な対応ができると考える。

さらに、これらの認定審査会に対して、各疾患群を担当する専門学会は、必要に応じて可能な範囲で認定審査会の委員として専門医の推薦し、また専門医の推薦が困難であるような専門医数の少ない疾患群では中央コンサルテーションによる supervise を行う等して、必要に応じて常に専門的助言が得られる体制作りが望まれると考える。

#### E. 結論

小児慢性特定疾患治療研究事業を公平、公正に運用するために、正確な診断は必須である。したがって、正確な診断に基づく公正な認定審査を行うためには、専門学会等の専門家集団による認定審査会への専門的助言等の支援が不可欠である。

一方、専門家集団は対象疾患の特性から、規模が小さいこともあり、一律な制度設計では機能しない。このため、実施主体および疾患群の特性に柔軟に対応できる医療側の支援

体制の構築が望まれる。

本研究では、引き続き、実施主体の状況ならびに疾患群毎の患者数や専門医数の偏りを踏まえつつ、日本小児科学会小慢委員会と連携ならびに協力体制を維持し、当該事業の公平・公正な運用に資する支援体制の構築に努めていきたいと考える。

#### 【参考文献】

社会保障審議会児童部会 小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（報告）」平成 25 年 12 月  
[http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12601000-Seisaku-toukatsukan-Sanjikanshitsu\\_Shakaihoshoutantou/0000032599.pdf](http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12601000-Seisaku-toukatsukan-Sanjikanshitsu_Shakaihoshoutantou/0000032599.pdf)

#### F. 健康危険情報

なし

#### G. 研究発表

なし

#### H. 知的財産権の出願・登録状況

なし

表 1. 小児慢性特定疾患治療研究事業における疾患群別、専門学会員数および専門医数

疾患群	専門学会	学会員数	専門医・認定医数
悪性新生物	日本小児血液がん学会	1881	H26 年度より
慢性腎疾患	日本小児腎臓病学会	1275	(日本腎臓病学会専門医のみ)
慢性呼吸器疾患	日本小児呼吸器学会	767	なし
慢性心疾患	日本小児循環器学会	2470	399
内分泌疾患	日本小児内分泌学会	1235	(日本内分泌学会専門医のみ)
膠原病	日本小児リウマチ学会	856	なし
糖尿病	日本小児内分泌学会	(1235)	(日本糖尿病学会専門医のみ)
先天代謝異常	日本先天代謝異常学会	653	なし
血友病等血液・免疫疾患	日本小児血液がん学会	(1881)	(H26 年度より)
	日本免疫不全症研究会	28*	なし
神経・筋疾患	日本小児神経学会	3707	1089
慢性消化器疾患	日本小児栄養消化器肝臓学会	620	H26 年度より

平成 26 年 3 月時点。学会員数のカッコ内は再掲データ。

\* 会員登録制ではないため、顧問 1 名、代表幹事 1 名、幹事 26 名の合計とした。

表 2. 小児慢性特定疾患治療研究事業における疾患群別、登録患者数

疾患群	登録患者数	新規登録患者数
悪性新生物	14177	2334 (16.7%)
慢性腎疾患	8874	1309 (15.0%)
慢性呼吸器疾患	2809	664 (24.0%)
慢性心疾患	18345	3000 (16.7%)
内分泌疾患	32414	4519 (14.2%)
膠原病	3706	620 (17.0%)
糖尿病	6620	825 (12.6%)
先天代謝異常	4813	442 (9.3%)
血友病等血液・免疫疾患	4376	633 (14.7%)
神経・筋疾患	5244	636 (12.3%)
慢性消化器疾患	3054	291 (9.7%)
合計	104432	15273 (14.9%)

平成 23 年度小児慢性特定疾患治療研究事業 登録者数集計 (平成 26 年 2 月時点) による  
(新規・継続に関するデータが欠損している京都府は集計から除いた)

表 3. 小児慢性特定疾患治療研究事業における実施主体毎・疾患群毎登録人数（平成 24 年度）

実施主体		疾患群											合計
		悪性新生物	慢性腎疾患	慢性呼吸器疾患	慢性心疾患	内分泌疾患	膠原病	糖尿病	先天性代謝異常	血液・免疫疾患	神経・筋疾患	慢性消化器疾患	
001北海道	238	234	48	318	602	78	175	92	50	149	58	2042	
002青森県	141	83	24	222	224	86	72	35	45	44	31	1007	
003岩手県	137	93	34	183	278	52	63	54	63	38	32	1027	
004宮城県	168	83	45	188	337	35	78	51	28	56	35	1104	
005秋田県	125	93	7	118	169	38	33	50	22	15	34	704	
006山形県	121	64	11	109	102	27	60	44	40	29	27	634	
007福島県	183	84	9	105	317	33	95	30	58	38	29	981	
008茨城県	243	111	17	332	464	66	151	59	87	68	63	1661	
009栃木県	169	102	55	247	267	51	88	59	58	109	48	1253	
010群馬県	171	79	19	202	218	40	82	42	29	49	33	964	
011埼玉県	623	360	187	999	1206	161	297	205	209	197	147	4591	
012千葉県	494	341	165	707	959	141	222	137	116	207	103	3592	
013東京都	990	514	162	1715	1898	227	423	361	290	490	223	7293	
014神奈川県	300	166	38	369	477	55	138	59	70	96	54	1822	
015新潟県	223	136	23	113	316	42	64	53	39	97	39	1145	
016富山県	101	43	5	65	206	16	46	18	17	14	14	545	
017石川県	100	65	13	243	237	57	30	21	15	9	23	813	
018福井県	89	67	20	97	243	17	53	40	27	32	18	703	
019山梨県	85	67	36	40	256	23	44	29	19	35	35	669	
020長野県	181	113	32	262	446	43	97	73	75	32	10	1364	
021岐阜県	182	98	9	91	383	31	91	50	46	47	33	1061	
022静岡県	246	187	38	311	665	65	115	93	85	79	38	1922	
023愛知県	382	259	42	331	847	80	182	126	164	89	113	2615	
024三重県	258	133	62	247	573	54	104	68	78	85	67	1729	
025滋賀県	148	88	23	307	392	51	66	60	59	107	35	1336	
026京都府	144	113	306	253	371	58	61	50	40	48	35	1479	
027大阪府	423	352	170	889	1415	133	239	199	146	290	97	4353	
028兵庫県	268	100	48	205	669	54	129	107	82	82	65	1809	
029奈良県	128	90	14	326	397	37	48	46	66	70	28	1250	
030和歌山県	80	61	9	82	144	29	27	39	23	15	13	522	
031鳥取県	95	32	12	67	136	15	34	19	9	29	27	475	
032島根県	81	51	7	82	277	17	26	44	29	27	25	666	
033岡山県	82	58	6	42	263	19	45	31	24	34	22	626	
034広島県	166	91	21	272	372	38	66	59	59	62	39	1245	
035山口県	125	74	17	144	477	33	74	38	44	41	24	1091	
036徳島県	101	84	5	28	140	20	47	23	22	17	13	500	
037香川県	69	25	8	23	201	9	44	26	16	20	16	457	
038愛媛県	96	48	14	87	309	20	56	43	29	19	34	755	
039高知県	51	27	3	45	155	10	20	11	21	10	6	359	
040福岡県	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	0	
041佐賀県	69	72	14	55	173	17	36	28	13	11	30	518	
042長崎県	123	138	73	239	377	43	96	74	46	81	33	1323	
043熊本県	155	82	40	57	326	21	74	55	23	54	28	915	
044大分県	101	98	8	102	181	35	55	44	49	25	27	725	
045宮崎県	68	83	17	128	295	18	58	31	14	34	18	764	
046鹿児島県	161	130	35	275	460	50	87	45	43	54	28	1368	
047沖縄県	206	217	193	538	935	86	96	95	74	111	43	2594	
048札幌市	211	157	43	196	576	64	116	65	63	126	33	1650	
049仙台市	158	89	52	215	350	40	70	72	56	68	37	1207	
050千葉市	131	103	25	175	250	36	60	39	27	61	23	930	
051横浜市	356	211	53	482	696	115	195	108	130	106	80	2532	
052川崎市	101	48	11	161	209	27	45	20	41	34	34	731	
053名古屋市	221	160	30	179	479	42	101	61	89	61	67	1490	
054京都市	207	121	65	274	497	70	70	60	69	82	39	1554	
055大阪市	245	179	80	402	664	51	105	121	68	129	45	2089	
056神戸市	176	90	41	144	371	42	95	55	60	44	28	1146	
057広島市	202	95	35	301	387	70	48	46	58	111	36	1389	
058北九州市	132	51	16	60	250	25	64	43	37	18	14	710	
059福岡市	212	100	42	154	376	39	75	80	62	55	43	1238	
060秋田市	56	39	7	58	100	18	23	13	21	7	20	362	
061郡山市	42	21	5	45	23	12	25	5	12	20	6	216	
062宇都宮市	58	34	28	91	103	20	32	17	18	42	15	458	
063新潟市	98	49	12	54	180	22	45	31	22	61	25	599	
064富山市	54	47	2	37	156	11	22	14	8	11	4	366	
065金沢市	38	23	9	151	108	17	19	21	13	13	9	421	
066岐阜市	30	25	4	18	34	12	17	6	12	9	12	179	
067静岡市	78	55	23	106	212	27	26	22	27	37	17	630	
068浜松市	73	67	6	80	252	26	60	23	19	32	21	659	
069豊田市	54	27	5	34	82	5	24	17	18	11	13	290	
070堺市	91	86	11	199	232	27	41	49	13	75	15	839	
071姫路市	72	37	10	59	97	11	26	19	20	19	12	382	
072和歌山市	41	32	11	46	95	14	15	17	12	8	11	302	
073岡山市	67	33	13	69	330	16	42	30	27	58	20	705	
074福山市	52	25	8	108	118	18	23	28	22	46	14	462	

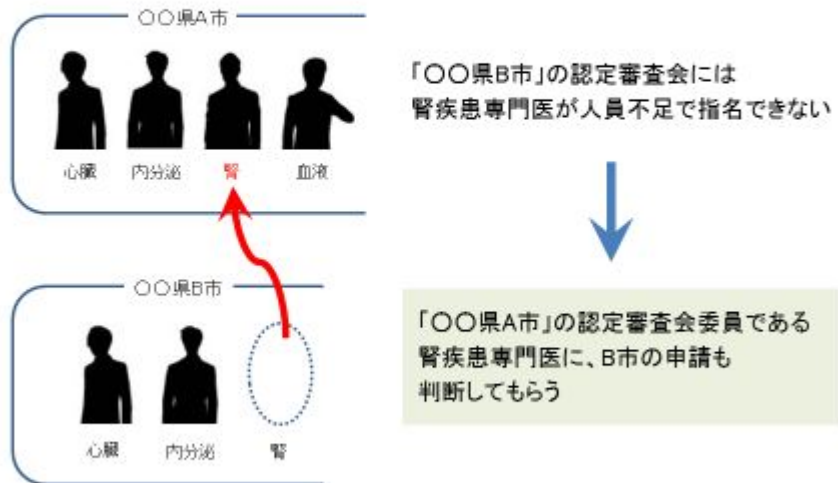
表 3. 続き

075高知市	31	41	1	49	162	9	17	12	17	15	5	359
076長崎市	51	35	24	79	209	12	28	16	12	24	11	501
077熊本市	126	61	34	59	197	28	42	27	22	34	15	645
078大分市	87	44	6	88	115	15	35	21	49	20	14	494
079宮崎市	60	55	16	82	244	9	25	27	20	32	10	580
080鹿児島市	71	60	13	238	268	27	44	23	16	22	17	799
081いわき市	53	14	0	47	167	8	22	13	19	5	6	354
082長野市	46	31	7	56	108	10	20	17	17	44	10	366
083豊橋市	44	34	2	30	55	3	21	9	11	11	10	230
084高松市	57	44	3	20	193	14	15	25	19	16	11	417
085旭川市	30	17	16	35	84	8	28	16	13	36	6	289
086横須賀市	41	15	2	62	91	14	22	13	16	12	10	298
087松山市	57	29	8	78	192	17	35	25	23	15	15	494
088奈良市	42	52	25	141	150	13	11	21	18	25	10	508
089倉敷市	77	36	18	74	171	15	34	23	16	42	14	520
090さいたま市	142	81	37	245	281	35	68	45	45	37	29	1045
091川崎市	40	27	8	65	83	5	12	10	12	13	6	281
092船橋市	68	54	27	129	180	14	29	38	25	31	19	614
093相模原市	83	70	23	169	146	30	44	17	23	19	20	644
095岡崎市	30	25	4	38	83	9	26	18	13	6	11	263
096高槻市	33	22	21	63	154	13	15	11	13	31	4	380
097東大阪市	62	31	12	75	119	13	27	34	17	31	7	428
098函館市	28	26	6	10	50	11	19	5	5	6	3	169
099下関市	28	16	4	15	82	5	25	14	5	2	5	201
100青森市	36	19	9	84	68	22	14	9	11	13	5	290
101前橋市	41	27	2	58	62	13	21	9	13	13	8	267
102高崎市	46	18	2	58	83	11	19	7	9	13	5	271
103柏市	34	28	13	95	90	25	19	18	13	29	15	379
106大津市	34	20	9	75	128	17	22	20	16	22	13	376
107久留米市	43	10	2	21	90	9	18	14	16	9	6	238
108盛岡市	39	33	14	53	87	15	16	13	16	14	4	304
109西宮市	57	28	17	53	122	8	22	22	21	30	7	387
110尼崎市	50	21	18	46	133	16	23	12	11	16	7	353
111豊中市	42	22	14	68	137	7	24	39	10	40	6	409
合計	13955	8839	3208	18316	31966	3688	6633	4741	4267	5417	3030	104060

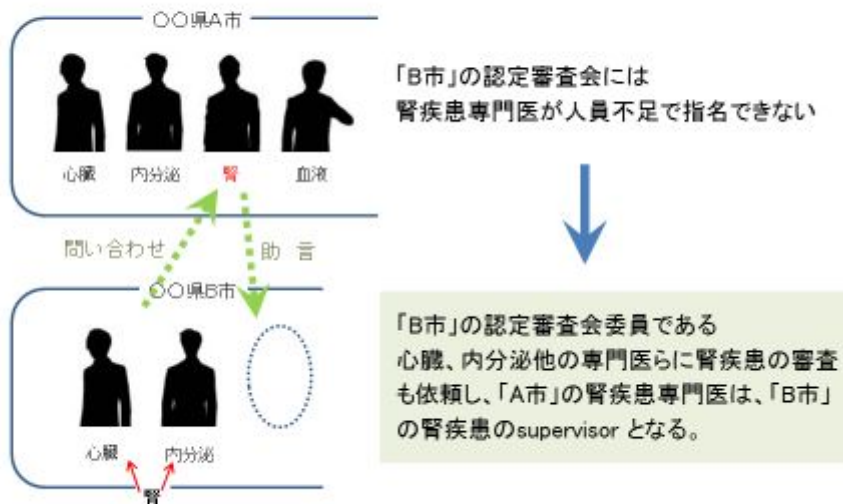
※H26年2月時点の集計値（データクリーニング中である福岡県は除く）

実施主体番号 094, 104, 105 は欠番。（計 108 実施主体）

認定審査を他の実施主体の専門学会専門医に依頼  
 (専門学会専門医が複数の実施主体を担当)



別の疾患群の認定審査委員に認定審査を依頼  
 (他疾患の専門医が複数の疾患群を重複して担当)



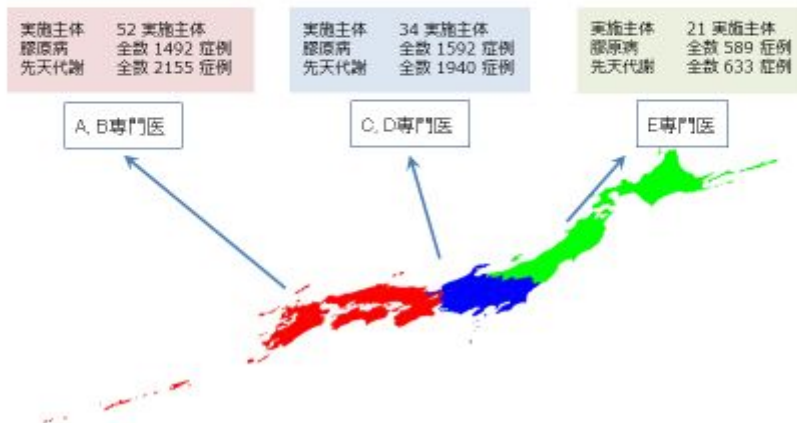


## 申請数が少なく学会専門医の数も少ない場合(その1)

専門学会で全国をいくつかのブロックに分けて(分け方は任意)、各々のブロック毎の担当者を学会が任命する。担当者は毎月の各実施主体開催の認定審査会に間に合うように、「自分で直接」意見書の審査を行う。

利 点: 専門学会専門医の数が少なくても専門性を確保できる

欠 点: 各担当者の負担が大きい

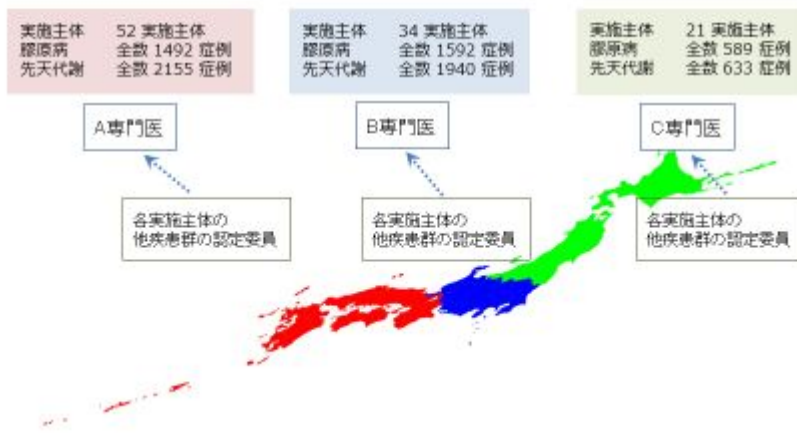


## 申請数が少なく学会専門医の数も少ない場合(その2)

専門学会で全国をいくつかのブロックに分けて(分け方は任意)、各々のブロック毎の担当者を学会が任命する。担当者は、各実施主体に委託した認定委員からの疑難に答えるのみ。

利 点: 専門学会専門医の負担が小さい

欠 点: 専門性が保てない恐れ。委託された認定委員の負担が増える。



## 申請数が少なく学会専門医の数も少ない場合(その3, 4)

専門学会内で全国一律に対応。学会の担当者を「疾患群の細分類毎」に分けて(分け方は任意)、各々の細分類疾患の担当者を学会が任命する。担当者は毎月の各実施主体開催の認定審査会に間に合うように「自分で直接意見書の審査を行う(その3)、もしくは、各実施主体に委託した認定委員からの疑義に答える(その4)。

利 点: 専門学会専門医の数が少なくても専門性を確保できる

欠 点: 各担当者の負担が大きい、各実施主体の業務が煩雑になる

