

小児慢性特定疾患データベースのリンケージと解析に関する研究

研究要旨

慢性疾患を抱える児童等に対する国の医療費助成等の支援施策である小児慢性特定疾病対策は、年間 10 万件を超える登録のある世界最大級の小児疾病登録データベースである。一方で小児期には類似の医療費支援施策が並列しており、全ての対象者が登録されている訳では無く、小児慢性特定疾病登録データの悉皆性の評価は課題となっていた。

本研究では相対的格差指標である Theil index を用いて、小児慢性特定疾病のデータ登録状況に地域間格差がないかを検討したところ、全般的に登録格差が少なく、慢性的に経過する内科的疾患では全般的に登録格差が少なかった。外科系疾患ではやや Theil index 値が高い傾向があり、育成医療等の他の施策の影響が示唆された。

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 部長）

研究協力者：

盛一 享徳（国立成育医療研究センター 臨床疫学部 上級研究員）

A. 研究目的

慢性疾患を抱える児童等に対する国の医療費助成等の支援施策である小児慢性特定疾病対策は、申請時に疾病情報を医師が記載した医療意見書を提出する必要がある。医療意見書の項目は電子化され集められ、登録データベースとして疾病研究に利用可能となっている。当該施策が対象とする疾患は、出生直後から発症する者から小児期～青年期にかけて発症するものまで幅広くカバーしており、年間 10 万件を超える世界最大級の小児疾病登録データベースとなっている。しかしながら乳幼児期や小児期には小児慢性特定疾病対策の他に、乳幼児医療費助成制度等の市町村事業として行われる

子どもに対する類似の医療費助成施策が併存しており、小児慢性特定疾病に該当する症例の全てについて登録が行われている訳ではない。

このような背景がある中で、以前より小児慢性特定疾病登録データベース（以下、小慢登録DB）については、その悉皆性が課題とされてきた。小慢登録DBを他のデータベースとリンケージするに当たり、小慢登録DB内の登録データに大きな偏りが存在するとリンケージ結果にも影響を与えることから、まず小慢登録DBの特性について明らかにする必要があると考えられた。しかしながら、対象疾患について、わが国における発症率や罹患率が正確に把握できている疾患はほとんど無いことから、小慢登録DBへの登録者数を患者数と比較した絶対的な評価をすることは難しい。そこで本研究では、経済学で用いられている相対的な格差指標を用いて、小慢登録データが申請された自治体ごとに大きく偏りがいないかどうか、定量的

に評価を行い、小慢登録データが全国データとしての代表性を持ち得るかについて検討を行った。

B. 研究方法

小児慢性特定疾病対策は、都道府県・指定市・中核市ごとに運用されている施策であり、運用主体の自治体を実施主体とよぶ。医療費助成の財源は国と実施主体が1/2ずつ支出することで運用されている。本研究は、登録状況が実施主体間に差異があるかを経済学で用いられている相対的格差指標である Theil index を用いて検証を行った。利用データは電子化が完了している2011年度から2013年度までの小児慢性特定疾患治療研究事業における登録データ(以下、旧小慢登録データ)を用いて行った。

相対的格差を測定するために、以下の計算式で導出される Theil index を利用した。

$$T = \sum_{i=1}^n p_i r_i \ln(r_i)$$

Theil index は各群の人口で重み付けられた健康状態の格差を示す。各群間の格差が全くない状態では Theil index は0となり、数値が大きくなるほど、群間の格差が大きいことを示す。

統計学的分析は、STATA version 14.2 (StataCorp LP, College Station, Texas, USA) を用いて行った。

(倫理面の配慮)

本調査は、研究利用について同意がなされている小児慢性特定疾病登録データを用いて行われており、国立成育医療研究センター倫理審査委員会による倫理審査(受付番号:1637)による承認を受けた。

C. 研究結果

Theil index は他の研究にて既に発症率が推計され、小児慢性特定疾病登録状況が比較的良好であると推定されている1型糖尿病の結果が基準値として見なせると考えた。

2011-13年における小慢対象年齢全体(0-19歳)の1型糖尿病の Theil index は、平均0.358 [95%CI 0.273-0.443] であった。

対象疾患群ごとに代表的な疾病について Theil index の評価を行ったところ、急性リンパ性白血病 0.427 [0.350-0.503]、急性骨髄性白血病 0.380 [0.347-0.414]、ネフローゼ症候群 0.350 [0.269-0.430]、IgA腎症 0.314 [0.247-0.381]、慢性肺疾患 0.492 [0.406-0.578]、ファロー四徴症 0.563 [0.466-0.660]、単心室症 0.417 [0.366-0.468]、成長ホルモン分泌不全性低身長症 0.376 [0.349-0.404]、甲状腺機能低下症 0.270 [0.223-0.318]、若年性特発性関節炎 0.312 [0.285-0.340]、2型糖尿病 0.309 [0.197-0.421]、フェニルケトン尿症 0.380 [0.362-0.397]、血友病 A 0.403 [0.396-0.410]、免疫性血小板減少性紫斑病 0.390 [0.301-0.478]、ウエスト症候群 0.361 [0.318-0.404]、レノックス・ガストー症候群 0.714 [0.602-0.826]、先天性胆道拡張症 0.261 [0.226-0.296]、胆道閉鎖症 0.440 [0.409-0.472] という結果であった。

このうち1型糖尿病と Theil index の平均値に差が統計学的に認められなかったものは、急性骨髄性白血病、ネフローゼ症候群、IgA腎症、成長ホルモン分泌不全性低身長症、若年性特発性関節炎、2型糖尿病、フェニルケトン尿症、血友病 A、免疫性血小板減少性紫斑病、ウエスト症候群であり、1型糖尿病よりも Theil index が低値であったものは、甲状腺機能低下症、先天性胆道拡張症であった。

D. 考察

小児慢性特定疾病の対象疾患群の中で代表的な疾病について3年間の Theil index の平均値を計算し、基準とした1型糖尿病の値との比較を行った。全般的には Theil index の値は小さく、登録格差は概ね少ないと考えられた。

Theil index が高値となる傾向のあった疾病は、外科系疾病で多く、一方内科的疾患で慢性的に経過するものは1型糖尿病と同様の数値となる傾向にあった。外科系疾病で登録格差が大きい理由としては、外科系疾患は育成医療制度を用いることが多く、登録者に偏りが生じることが考えられた。

E. 結論

小児慢性特定疾病の登録データは概ね実施主体間の登録格差は少なく、わが国を代表していると考えられた。

F. 研究発表

1. 論文発表

Nagata C, Moriichi A, Morisaki N, Gai-Tobe R, Ishiguro A, Mori R. Inter-prefecture disparity in under-5 mortality: 115 year trend in Japan. *Pediatr Int.* 2017;59:816-20.

2. 学会発表

盛一享徳, 森本康子, 柏崎ゆたか, 横谷進. 「小

児慢性特定疾病登録の地域差に関する検討」. 第121回日本小児科学会学術集会(平成30年4月22日、福岡)

G. 知的財産権の出願・登録状況(予定を含む。)

1. 特許情報

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし