

## ・ 総括研究報告



## 小児慢性特定疾病対策の推進に寄与する実践的基盤提供にむけた研究

研究代表者 賀藤 均(国立成育医療研究センター病院 病院長)

### 研究要旨

平成 27 年 1 月より新たに施行された小児慢性特定疾病対策は、まもなく 5 年以内に行うこととされている制度の見直しに入ろうとしている。本研究班は、児童福祉法改正法（平成 26 年法律第 47 号）及び「小児慢性特定疾病その他の疾病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等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針」（平成 27 年厚生労働省告示第 431 号）に示された小児慢性特定疾病対策を適正に実現するため、その推進に寄与する資料およびその実践的基盤を提供することを目的に研究を行った。

小児慢性特定疾病は、医療技術等の進歩により 30 年以上前と比べ、疾病による死亡率は約 1/3 に減少する一方、新たに開発される高額医薬品の出現などから制度の公平・公正な運営が大きな課題となりつつある。また小児慢性特定疾病患者の自立支援の必要性が高まっているにも関わらず、自治体等の自立支援体制の整備は未だ不十分であり、これらの課題解決のため、本年度は以下についての研究を行った。まず日本小児科学会及び分科会、関連学会等と連携した小児慢性疾患対策の検討として、小児慢性特定疾病の要件を満たしていると考えられる疾病について、学会等と連携して対象追加要望を行うとともに、既存の制度における改善点も合わせて要望として提示した。慢性疾病を抱えて成長する児のアウトカム向上を適切に評価し支援するために、小児慢性特定疾病へ国際生活分類の概念の導入を試み、既存の制度の枠組みが国際生活分類の項目とどのように紐付けられるかの検討を行い対応付けが可能であることを示した。また小児慢性特定疾病の受給状況および登録データの悉皆性を明らかにするために、国民健康保険における診療報酬明細書データを利用し、小児慢性特定疾病の公費負担の実情について検討を行い、利用率が高い場合にはおよそ 50～60%程度の症例において、小児慢性特定疾病が利用されている可能性があることが示唆された。昨今の医療費の高騰を踏まえ、小児医療についても医療経済評価の概念を導入することができるかの試みを行い、限定的ながらも小児領域への医療経済的な評価への応用の可能性を示した。慢性疾病を抱える子どもたちの実情を把握するために、大規模な患者実態調査を行い、本年度は約 6,600 件の回答を得られた。以上の研究成果を踏まえ、引き続き政策への貢献、社会への情報提供に努めたい。

### 研究分担者：

横谷 進 （福島県立医科大学ふくしま  
国際医療科学センター 特命教  
授）

大竹 明 （埼玉医科大学小児科学教室  
教授）

田倉 智之 （東京大学大学院医学系研究  
科医療経済政策学講座 特任教  
授）

落合 亮太 （横浜市立大学大学院医学研究科看護学専攻 准教授）  
森 臨太郎 （国立成育医療研究センター研究所政策科学研究部 部長）  
掛江 直子 （国立成育医療研究センター臨床研究センター生命倫理研究室 室長）

盛一 享徳 （国立成育医療研究センター研究所小児慢性特定疾病情報室 室長）

## A. 研究目的

わが国の慢性疾病を抱える子ども達への支援は、昭和 49 年に 9 疾患群からなる制度として現行制度が始まって以来、対象疾患や医療費の自己負担の軽減、用具給付等の福祉サービスを拡充しつつ、疾患研究を進めるために医療情報の収集が行われ、一定の成果を上げてきた。平成 17 年には児童福祉法を根拠とする法定事業となり、その後 5 年を目処に当該事業の見直しが行われ、平成 26 年に児童福祉法の一部改正、平成 27 年 1 月より新たに小児慢性特定疾病対策として施行された。

その際に示された基本的な方針を踏まえ、本方針に則った施策を行っていく上で、小児慢性特定疾病データベースの充実と研究への利活用推進など、引き続き検討すべき課題も多い。また、30 年以上前と比し小児慢性特定疾病全体の死亡率は約 1/3 に減少したこと、高額医薬品の出現などから、制度の公平・公正な運営が大きな課題となりつつある。さらに、小児慢性特定疾病患者の自立支援の必要性が高まっているにも関わらず、自治体等の自立支援体制の整備は未だ不十分である。これらの課題解決のため、基本方針に寄与する様々な資料および実践的基盤の開発と提供が必要である。

本研究班は、児童福祉法改正法（平成 26 年法律第 47 号）及び「小児慢性特定疾病その他の疾病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等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針」（平

成 27 年厚生労働省告示第 431 号）に示された小児慢性特定疾病対策を適正に実現するため、その推進に寄与する資料およびその実践的基盤を提供することを目的に研究を行った。

## B. 研究方法

本研究班では、各分担研究者が中心となり、以下のような研究を実施した。

- 1) 日本小児科学会及び分科会、関連学会等と連携した小児慢性疾患対策の検討
- 2) 小児慢性特定疾病の状態の程度の検討 - 小児慢性特定疾病への国際生活機能分類の概念導入の試み -
- 3) 神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データの特徴に関する研究
- 4) 神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データを用いた小児慢性特定疾病の公費負担の実情に関する研究
- 5) 医療経済評価の手法を用いた小児慢性疾患に関する研究
- 6) 障害福祉等関連施策・制度の患者視点での整理に関する研究
- 7) 小児慢性特定疾病に対する ICD-10 コード附番に関する検討
- 8) 慢性疾病を有する子どもの QOL および社会支援等に関する実態調査
- 9) 「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイトの利用状況と情報発信のあり方に関する検討

- 10) 小児慢性特定疾病指定医の研修プログラム (e-learning) の構築及び運用の検討
- 11) 患者家族等ならびに医療関係者への情報提供・情報共有についての検討
- 12) 小児慢性特定疾患治療研究事業における登録データの精度向上に関する研究 - 平成 26 年度の小児慢性特定疾患治療研究事業の疾病登録状況 -
- 13) 小児慢性特定疾患治療研究事業システムに関する研究 - 平成 26 年度小児慢性特定疾患治療研究事業の疾患群別、実施主体別、登録時年齢階級別、登録者数 -

## C. 研究結果

各分担研究の成果については、以下の通りである。

### 分担研究 1

「日本小児科学会及び分科会、関連学会等と連携した小児慢性疾患対策の検討」(大竹明他)

平成 27 年 1 月から新しくなった小児慢性特定疾病対策の公平・公正な運用に医学専門家の立場から貢献し、慢性疾患を有する患児の療育環境等をより良くするための議論ならびに提案を行っていくことを目的として、日本小児科学会をはじめとする小児期の慢性疾患診療に携わる学会ならびに研究会等と当該研究班が連携・協力して活動を行なう場として、日本小児科学会小児慢性疾患委員会が設置されている。当該委員会では、旧制度である小児慢性特定疾患治療研究事業の見直し(児童福祉法の改正)から、小児の慢性疾患の診断基準や対象基準の整理、トランジションの見地から小児期発症の慢性疾病について指定難病の要件を満たしているかの検討等、様々な課題について検討し情報提供を行ってきた。

本年度、小児慢性特定疾病対策の対象疾病の要件を満たしていると考えられる疾病につ

いて、追加候補疾病に該当するとかどうかの検討を行い、7 つの疾病を追加候補として厚生労働省健康局難病対策課に要望し(うち 1 疾病については既対象疾病の対象拡大要望)、最終的に小児慢性特定疾病として、これら 7 疾病が追加された。また医学的見地から、区分名の変更が適切であるとして要望した慢性消化器疾患についても区分名の変更が行われるとともに、既対象疾病のうち疾患群の変更と疾病の状態の程度の修正が必要と考えられた 4 疾病について、変更と一部疾患群移動が認められ実施された。さらに小児慢性特定疾病重症患者認定基準について、医学的な見地から修正を求めていた箇所についても変更が行われた。

### 分担研究 2

「小児慢性特定疾病の状態の程度の検討 - 小児慢性特定疾病への国際生活機能分類の概念導入の試み - 」(盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策は、施策の歴史が長く、少しずつ対象疾病を拡大しつつ改正されてきた。当該施策の対象者は対象疾病名とそれに対をなす「疾病の状態の程度」と呼ばれる対象範囲を定めた厚労省告示における文言によって規定されている。この「疾病の状態の程度」は、対象疾病の特徴を踏まえ、疾患群ごとに設定されているが、文言に差異が大きく、異なる「疾病の状態の程度」をもつ疾病間もしくは疾患群を超えた比較が難しい状況にあった。

近年はこれまで生命予後が不良であった疾病についても、予後が改善してきている一方で、完治は難しく疾病を抱えて成長する子ども達が増加しており、これまでの身体的 (Physical) な側面を中心にみるのではなく、身体的・精神的・社会的 (Biopsychosocial) な面から子ども全体を捉え、包括的に支援・指導することが必要となってきた。

国際生活機能分類 (International

classification of functioning, disability and health, ICF) は、生きることの全体像を概念化したものであり、とくに子ども達が生きていく上で重要となる社会参加に関し、実行状況を捉えることができる概念である。小児慢性特定疾病は、様々な疾病を内包するが、子ども達のより良いアウトカム達成を支援するため、疾病に寄らない現状把握を可能にするのではと考え、小児慢性特定疾病の枠組みの中への ICF の導入を試みた。結果、全ての「疾病の状態の程度」は、ICF の項目と紐付けが可能であり、ICF の項目を介して、疾病の違いを超えて患児の生活機能の状態を評価できる可能性が示唆された。

### 分担研究 3

#### 「神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データの特徴に関する研究」(盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策は、慢性疾病を抱える子どもたちに対する国の医療費等支援施策である。平成 30 年度には 756 疾病が対象となっている。子どもに対する医療費助成制度は、市町村事業として行われる子ども医療費助成等、他の類似する施策が並列していることもあり、小児慢性特定疾病の公費負担の実情の把握は難しい。小児慢性特定疾病登録については、その悉皆性の把握が過大となっているが、悉皆性の検討には、対象疾病の有病率を推定する必要があり、稀少疾病が多く含まれる小児慢性特定疾病について、わが国の有病率を推定するのは非常に困難である。本研究では、神奈川県および県下 33 市町村ならびに神奈川県国民健康保険団体連合会の協力の下、国民健康保険における診療報酬明細書(レセプト)データの解析を行い、小児慢性特定疾病の公費負担の実情を把握することを試みた。疾病ごとの解析に先立ち、神奈川県国保レセプトの特徴について検討を行った。その結果、未成年人口に対する国保のカバー率は 15-20%

程度とやや低く、加入者の世帯所得区分に偏りが認められたが、その特徴を踏まえ、疾病毎の分析を行えば有益な情報が得られる可能性が高いと考えられた。

### 分担研究 4

#### 「神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データを用いた小児慢性特定疾病の公費負担の実情に関する研究」(盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策は、慢性疾病を抱える子どもたちに対する国の医療費等支援施策である。平成 30 年度には 756 疾病が対象となっている。子どもに対する医療費助成制度は、市町村事業として行われる子ども医療費助成等、他の類似する施策が並列していることもあり、小児慢性特定疾病の公費負担の実情の把握は難しい。小児慢性特定疾病登録については、その悉皆性の把握が過大となっているが、悉皆性の検討には、対象疾病の有病率を推定する必要があり、稀少疾病が多く含まれる小児慢性特定疾病について、わが国の有病率を推定するのは非常に困難である。本研究では、神奈川県および県下 33 市町村ならびに神奈川県国民健康保険団体連合会の協力の下、国民健康保険における診療報酬明細書(レセプト)データの解析を行い、小児慢性特定疾病の公費負担の実情を把握することを試みた。小児慢性特定疾病を代表する疾病について検討を行ったところ、小児慢性特定疾病の対象となる可能性のある症例のうちのおよそ 40~60%において、小児慢性特定疾病を利用している可能性が示唆された。本研究結果の解釈には、種々の制約があるものの、公費負担の実情の概要が捉えられ、また小児慢性特定疾病という稀少疾病を多く含む小児の慢性疾病について、半数をコホートの補足出来る可能性があることが示されたことは、今後の小児慢性特定疾病登録の利用においても重要な意義をもつと考えられた。

## 分担研究 5

### 「医療経済評価の手法を用いた小児慢性疾病に関する研究」(田倉智之)

治療期間が長く医療費負担が高額となる場合も散見する「小児慢性特定疾病」については、適切な患児の診療や成育のみならず家族等の社会的な支援促進の観点から、医療経済学に関連した議論も望まれる。本研究は、最初に医療経済学の概念の整理を行い、続いて診療価値評価の手法の整理を進めた。また、関連する先行研究のサーベイを実施し、その成果を小児慢性疾患の医療経済的な評価方法の検討に反映した。特に、費用対効果分析および支払意思額調査について整理を試行した。海外の僅かな事例ではあるが、費用対効果の成績が比較的良い小児 ITP の治療評価の報告 (Prednisone から Anti-D、Anti-D から IVIG への増分費用効果比 (ICER) は、53,333US ドル/QALY、53,846US ドル/QALY) や、高い支払意思額を認める小児喘息の治療評価の報告 (1ヶ月当たりの WTP は、56.48US ドルから 64.84US ドルで、症状のある日数の 50% の減少 (およびそれに伴う心理社会的ストレスの減少) を評価) が散見した。以上から、限定的ながらも本研究における調査の結果、前述の手法は、当該領域における医療経済的な評価への応用の可能性が示唆された。

## 分担研究 6

### 「障害福祉等関連施策・制度の患者視点での整理に関する研究」(落合亮太)

小児慢性特定疾病を有する患者に対しては小児慢性特定疾病の医療費助成をはじめ複数の障害福祉制度が整備されているが、対象疾患、対象年齢、実施主体、居住地域などにより異なる制度が入り組んでおり利活用が難しい。本研究では小児慢性特定疾病を有する患者に関する主要な制度を整理し、利活用上の課題を患者視点で整理することを目的とし、既存

資料、本研究班および関連する研究班との情報交換を通して、制度マップを作成する。ついで、同マップに基づいて制度利用上の課題を整理した。

公的医療保険制度として「健康保険」「高額療養費制度」、国が実施する公的医療費助成制度として小児期は「自立支援医療(育成医療)」「小児慢性特定疾病の医療費助成、難病医療費助成」、成人期は「自立支援医療(更生医療)」、自治体が実施する公的医療費助成として「乳幼児・こども医療費助成」「重度心身障害者(児)医療費助成制度」を抽出し、各制度の対象、助成内容の概要を制度マップに整理した。制度上の課題としては、制度は原則として国が実施する制度から利用すべきだが、医療意見書に費用がかかる、毎年の申請が負担、制度がわかりづらい、自己負担があるなどの理由から、自治体が実施する乳幼児・こども医療費助成が利用され、助成が終了する移行期から成人期にかけて制度の移行に関する問題が生じることが示された。また、小児慢性特定疾病対策において、小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の充実が重要であることが示唆された。

## 分担研究 7

### 「小児慢性特定疾病に対する ICD-10 コード附番に関する検討」(盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策の対象疾病の多くは、患者数の少ない稀少疾病に該当し、病名コードの附番に混乱が生じている。適切な病名コードの附番は、診療録の管理やレセプト請求等において、病名を正しく管理する上で重要な問題となっている。昨年度は、国立成育医療研究センター医療情報管理部の協力の下、全国の医療機関の情報管理担当者の協力を得て、平成 28 年度時点での小児慢性特定疾病対策の対象疾病に対し ICD-10 コードの附番を行った。

今年度は、平成 31 年度時点における小児慢性特定疾病の対象疾病に対する ICD-10 コード附番を行い、前回の検討では含まれていなかった追加対象疾病に関する検討も合わせ ICD-10 コードの附番を検討した。

一般財団法人医療情報システム開発センター（MEDIS）が提供している ICD-10 対応標準病名マスタを利用し、MEDIS 標準病名との比較検討を行ったところ、昨年度の検討以降、標準病名マスタに多くの疾病が追加されており、標準病名が小児慢性特定疾病と未対応であると思われた疾病が、全 812 疾病中 82 疾病（10.1%）認められた。標準病名との対応状況は、疾患群により大きく状況が異なっており、指定難病が多く含まれている場合や包括的病名が少ない場合などでは、比較的多くの疾病が標準病名と対応していた。また対応する疾病が標準病名マスタに含まれている場合であっても、標準病名マスタの病名が古い概念である等、概念的に一対一対応ができない場合も散見された。

今回の検証では、小児慢性特定疾病に附番した ICD-10 コードを MEDIS が定義した ICD-10 コードに可能な限り準拠したことで、MEDIS が定義している指定難病についても合わせて対応が可能となった。今後も小児慢性特定疾病のコード化を継続し、実務利用が可能となるよう情報提供してゆきたい。

#### 分担研究 8

##### 「慢性疾病を有する子どもの QOL および社会支援等に関する実態調査」（掛江直子）

医療技術の向上により慢性疾病を有する子どもの長期生存が可能となり、1990 年頃より患児の心理・社会的問題が着目されるようになった。2015 年、厚生労働省は、小児慢性特定疾病対策において児への支援のあり方として医療費助成のほか、地域における自立支援の充実を目標に定めた。さらに、その基本方針

において、児童等及びその家族のニーズを踏まえた支援の提供を目的として、患児の就労状況や生活実態の把握をはじめ、療養生活、自立支援、家族支援等、疾病児童等の健全な育成に資する調査及び研究の実施及び充実に努めるとした。この基本方針を受け、小児慢性特定疾病児童とその保護者を対象とし、全国の 94 実施主体の協力を得て、2018 年 2 月から 3 月にかけて「慢性疾病を有する子どもの QOL および社会支援等に関する実態調査」を行った。また、2019 年 1 月から 3 月にかけて、全国 110 実施主体の協力を得て、同様の第 2 回調査を行い、経年変化等を含めて把握することとした。

第 1 回調査（2018 年）では、保護者による回答数は 8,457 件であった。これを、現在受けている社会支援の内容と、患児およびその保護者の QOL 等の関連について解析を行った。本調査の結果より、希望する支援の内容は、患児の病状や年齢によって異なることが明らかとなった。第 2 回調査（2019 年）は、保護者による回答数が 6,614 件であった。今後、第 2 回調査の記述疫学的な解析を行っていくとともに、経年変化等も明らかにする予定である。

#### 分担研究 9

##### 「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイトの利用状況と情報発信のあり方に関する検討」（盛一享徳）

「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイト(<https://www.shouman.jp>)は、厚生労働省小児慢性特定疾病登録管理データ運用事業により、平成 27（2015）年 1 月から本格運用を開始している。小児慢性特定疾病児童等の治療・療養生活の改善に資する情報の一元化を図り、疾患概要や診断の手引きのほか、各種相談窓口・支援団体等に関し、掲載情報を随時更新・拡充するとともに、問い合わせフォームを通じ関係各所からの問い合わせ

対応を行っている。

今年度は、800 超（包括病名含む）の対象疾病に関する概要や診断の手引き、医療意見書の保守を行った。特に医療意見書については、新規申請様式と継続申請様式を分離する大幅な改訂を行い、平成 30（2018）年 10 月より運用を開始した。

ポータルウェブサイトのアクセス数は年々増加傾向にあり、平成 30（2018）年度は約 361 万件で、1 日当たりの平均アクセス数は約 1 万件であった。端末種別アクセス数については、モバイル端末とタブレットを合わせたアクセス数が 7 割を超えていることが明らかになった。患者やその家族、医療従事者、行政関係者など、国民全般から幅広く閲覧されていることが推察され、当該ウェブサイトは情報発信手段として有益であると思われる。今後も引き続き、情報をより充実させ、より多くの国民に向けて、最新かつ正確な情報発信を行いたい。

#### 分担研究 10

##### 「小児慢性特定疾病指定医の研修プログラム（e-learning）の構築及び運用の検討」（盛一享徳）

小児慢性特定疾病情報室では、ウェブサイトを利用した小児慢性特定疾病指定医向けの e-learning プログラムで、制度全般に関する内容ならびに対象疾病に固有の事情を踏まえた内容の講義を用意している。対象疾病に関する研修講義及び評価用試験問題等は、担当する専門学会の下で作成されている。

平成 30 年 4 月より、対象疾病及び疾患群の拡大が行われたが、これらの制度改正に合わせ、サイト内の研修用コンテンツの追加・改訂を行った。平成 30 年度に利用している実施主体は、平成 31 年 3 月 31 日時点で 96 実施主体、全体の 76.8%となった。当該 e-learning サイトを利用する実施主体が増加により、自

身の自治体に属している研修者の状況把握に関する要望が増えたことから、中央管理システムに加えて、実施主体ごとに自身の自治体へ修了証を提出予定の研修者の状況把握と実績集計を支援する機能を拡充した。

今後も、広く活用できるよう、更なるコンテンツの改良、利用方法の検討を続けていきたい。

#### 分担研究 11

##### 「患者家族等ならびに医療関係者への情報提供・情報共有についての検討」（掛江直子）

小児慢性特定疾病対策における医療関係者や患者家族等への情報提供・情報共有については、厚生労働省小児慢性特定疾病登録管理データ運用事業により運用しているポータルウェブサイト「小児慢性特定疾病情報センター」（<https://www.shouman.jp>）が主な媒体となっており、その有用性については一定の評価が得られているところであるが、小児慢性特定疾病対策に基づく医療費助成の申請等の受付業務等を担当する各実施主体担当者から、利用者に手渡せるようなコンパクトな説明資料を望む声が寄せられていた。そこで、患者家族等ならびに医療関係者への情報提供・情報共有についての検討を行う分担研究課題において、当該制度の更なる周知ならびに適正な利用を目的とした、小児慢性特定疾病対策および小児慢性特定疾病情報センターについての説明リーフレット作成を行うこととした。

作成にあたっては、情報の受け手（利用者）に合わせた情報提供のあり方を検討し、医療費助成のみならず自立支援等の利用者にとって有用であり、情報として有しておくべき情報を整理して掲載した。また、本リーフレットは、これから小児慢性特定疾病指定医となる可能性のある医療者に対する当該制度の情報提供ツールとしても利用されることを期待してい

る。

#### 分担研究 12

「小児慢性特定疾患治療研究事業における登録データの精度向上に関する研究 - 平成 26 年度の小児慢性特定疾患治療研究事業の疾病登録状況 - 」(小児慢性特定疾病情報室)

小児慢性特定疾患治療研究事業(以下、小慢研究事業)は、平成 27 年 1 月 1 日に大幅な改定が行われ新たに小児慢性特定疾病対策として施行された。制度改正に際し医療意見書の全面的な改定が行われたことから、平成 26 年度小慢研究事業への申請は、新旧の医療意見書が混在した運用となった。このため本報告では、平成 31 年 3 月末日までに平成 26 年度分として厚生労働省に事業報告があったもののうち、従来の医療意見書(以下、旧意見書)を用いて申請されたものについて集計を行った。平成 26 年度の旧意見書での登録は 91,875 件(成長ホルモン治療用意見書提出分を含むと延べ 105,180 件)であった。

全国 110 か所の全ての実施主体から事業報告があり、平成 26 年度小慢研究事業全体での登録件数は、多い順に、1) 成長ホルモン分泌不全性低身長症 11,573 件(12.6%)、2) クレチン症 5,116 件(5.6%)、3) 1 型糖尿病(若年型糖尿病) 4,903 件(5.3%)、4) 急性リンパ性白血病 3,275 件(3.6%)、5) 甲状腺機能亢進症(バセドウ(Basedow)病) 3,103 件(3.4%)、6) ウェスト(West)症候群(點頭てんかん) 2,844 件(3.1%)、7) ネフローゼ症候群 2,548 件(2.8%)、8) ファロー四徴症 2,264 件(2.5%)、9) 心室中隔欠損症 2,053 件(2.2%)、10) 胆道閉鎖症(先天性胆道閉鎖症) 2,031 件(2.2%)であった。

#### 分担研究 13

「小児慢性特定疾患治療研究事業システムに関する研究 - 平成 26 年度小児慢性特定疾患治療研究事業の疾患群別、実施主体別、登録

時年齢階級別、登録者数 - 」(小児慢性特定疾病情報室)

当該研究班では、小児慢性特定疾患治療研究事業における医療意見書の電子データを用いてデータベースを構築してきた。このデータは、各実施主体が毎年厚生労働省に匿名化したうえで報告している電子データである。本研究では、「小児慢性特定疾患の登録・管理システム Ver5」および「Ver.5.1」を使用して、厚生労働省に事業報告があった 11 疾患群の疾患登録者数を、実施主体別、男女別、登録時年齢階級別に集計した。平成 26 年度は全国 110 ヶ所の実施主体全てを集計した。

#### D. 考察

本年度も日本小児科学会をはじめ、小児医療に携わる専門学会等との密接な連携の元、小児慢性特定疾病への追加疾病要望等を行い、多くの要望が了承され、制度の拡充に貢献することができた。また本年度から、慢性疾患を抱えた子どもたちの現状を踏まえた小児慢性特定疾病の制度そのものの在り方の検討につなげるために、国際生活分類や医療経済評価の考え方の小児医療への導入の試みを開始した。更に公費負担の現状をより正確に把握する試みとして、わが国で初めて診療報酬明細書データを利用した公費負担の実施状況の分析を行い、小児慢性特定疾病の受給状況の推測を行った。また患者の実際の状況について把握するために、大規模な患者実態調査を実施し、慢性疾患を抱えた子どもたちの実情をより具体化することを目指した。国民への幅広い情報提供を目的とし、平成 27 年 1 月 1 日の制度改正時より運用しているポータルサイトや指定医研修用 e-learning サイトについて、その利用状況の分析を行うとともに、平成 26 年度までの登録データについて集計を行った。

## E. 結論

当該研究班は、小児慢性特定疾患を罹患する患児数やその診断・治療等の状況を把握し、専門的な観点からそれらを分析し、結果を難治性疾患等政策に資する資料及び当該事業の適性化のための基礎データとして、実施主体及び厚生労働省に対して提供するという役割を担っている。

今後も、日本小児科学会をはじめとする各小児慢性疾患関連学会等と密接に連携し、当該事業の適正運用に資する情報の提供および疾患研究の更なる推進に努めていきたい。

