

小児期発症の希少難治性肝胆膵疾患における医療水準並びに患者 QOL の向上のための調査研究

衛生行政報告例からみた小児慢性特定疾病から指定難病への移行について

研究分担者：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）

研究要旨

【目的】小児慢性特定疾病から指定難病への移行について検討することを目的とした。

【方法】2016 年度から 2022 年度までの衛生行政報告例を用い、胆道閉鎖症の特定医療費（指定難病）受給者証所持者数の推移を評価するとともに、新たに 20 歳から特定医療費を受給した人数を推計した。

【結果】2017 年度から 2022 年度まで、前年度比較で 20～29 歳階層では毎年約 40 人の増加が認められた。

【結論】指定難病において継続申請者の脱落や再申請がないと仮定すると、小児慢性特定疾病には各年齢階層に 100 人程度の登録者がいると推定されていることから、最大で 4 割程度の者が小児慢性特定疾病から指定難病へ移行している可能性があった。

A. 研究目的

本研究班が研究対象としている疾病は先天性であり、手術や治療により生命予後が改善するが、根治することはなく、影響が生涯つづく可能性が高い。このため小児期から成人期への移行医療は大きな関心の一つである。小児期には乳幼児子ども医療費助成制度に加えて、本研究の対象疾病については、小児慢性特定疾病による医療費等の支援が受けられる。しかし当該制度は 20 歳未満を対象としており、20 歳以降に医療費等の支援を求める場合には、他の施策に移行しなければならない。成人の疾病に対する支援は、主に指定難病が該当するが、本研究班の研究対象疾病の全てが指定難病に指定されている訳ではない。また指定難病には重症度基準が設けられていることから、小児慢性特定疾病の受給者の全てが指定難病へ移行できるわけではない。

小児慢性特定疾病から指定難病へ制度上は移行できたとしても、実際にどの程度の者が制度移行をしているのかは不透明な点が多く、またその把握は非常に難しい。

胆道閉鎖症は比較的患者数が多く、また小児慢性特定疾病を全例受給することが可能であり、実際に小児慢性特定疾病に登録している割合も高いことが過去の本分担研究の結果から分かっている。小児慢性特定疾病の対象疾病である胆道閉鎖症として登録されている人数は、毎年およそ 2,000 人程度と予測され、わが国の胆道閉鎖症は年間 100～140 人程度の発症率と推計されていることから、0～19 歳までの症例のほとんどは小児慢性特定疾病に登録されていると考えられる。

本研究では、患者登録状況が比較的に明らかとなっている胆道閉鎖症を例として、衛生行政報告例の年次推移を分析し、胆道閉鎖症の小児慢性特定疾病から指定難病への移行状況を推測することを目的とした。

B. 研究方法

衛生行政報告例による公開情報

衛生行政報告例は厚生労働省によって年次報告されている。この中に特定医療費（指定難病）受

給者証所持者数および小児慢性特定疾病医療受給者証所持者数が報告されている。指定難病は徐々に対象疾患を増やしており、2016（平成 28）年度以降、本研究班の研究対象疾病の一つである胆道閉鎖症による特定医療費受給者証所持者数が報告されるようになった。一方、小児慢性特定疾病については、2017（平成 29）年度以降に報告されるようになったが、指定難病とは異なり対象疾病別の報告はなく、疾患群ごとの報告に限られる。

倫理的配慮等

記述統計等に利用したデータは、匿名加工後の集計後データであり、個人情報保護等の配慮は特段必要無いと考えられた。

C. 研究結果

特定医療費（指定難病）受給者証所持者数の推移

2016（平成 28）年から 2022（令和 4）年までの胆道閉鎖症の受給者証所持者数の総数は 172 人から 449 人まで増加していた。内訳としては、0-9 歳までは例年 2 人前後、10-19 歳は 9 人前後であり、期間中大きな変化はみられなかった。一方、20-29 歳については、111 人から 311 人まで大きく増加していた。期間中の 20-29 歳の年齢階層の増分は、およそ 40 人であった（表 1）。

小児慢性特定疾病医療受給者証所持者数の推移

対象疾患ごとの報告がないため、胆道閉鎖症が含まれる慢性消化器疾患群の受給者証所持者数の推移を見たところ、総数としては 2017 年の 6,592 人から 9,410 人と大きく増加していたが、年齢別で推移をみたところ、9 歳前後までは期間中大きな変化は認められず、10 歳以降から年々受給者数が増えていた（表 2）。

D. 考察

小児慢性特定疾病から指定難病への移行

過去の検討から小児慢性特定疾病に登録されている胆道閉鎖症は 2,000 件程度と予想される。小児慢性特定疾病は、0-19 歳までの登録となることから、先天性疾患である胆道閉鎖症の場合、単純計算

で 1 年齢階層につき 100 人前後の登録があることになる。一方、特定医療費（指定難病）の 20-29 歳の階層における年間の増分は、およそ 40 人であることから、指定難病の既対象者がそのまま翌年も対象者として継続されていると仮定すると、最大で 4 割程度の患者が小児慢性特定疾病から指定難病に移行している可能性があった。

指定難病には重症度基準があるため、一定以上の病態を有していないと特定医療費による助成はうけられない。一方、小児慢性特定疾病は症状に寄らず、全ての胆道閉鎖症が対象となる。このため全ての小児慢性特定疾病医療受給者が、指定難病の対象となるわけではない。今回の検討において、その事実が具体的に明らかとなった。

衛生行政報告例による小児慢性特定疾病医療受給者証所持者数の評価

小児慢性特定疾病については対象疾患ごとの報告がないことから、衛生行政報告例だけでの評価は極めて難しいことが分かった。過去の報告から、小児慢性特定疾病における慢性消化器疾患群では、クローン病や潰瘍性大腸炎といった炎症性腸疾患の患者の登録が年々急増しており、本研究による分析においても 10 歳以降で受給者証所持者数が増加していることから、炎症性腸疾患患者の増加による影響を現していることが推察される。具体的な分析については、小児慢性特定疾病児童等データを用いるべきであろう。ただし当該データの入手までには時間がかかることや直近の申請の電子化作業が終了していないこと等から、直ぐに評価を行うのは難しいと考えられた。

E. 結論

衛生行政報告例を利用した検討により、胆道閉鎖症の患者のおよそ 4 割程度が特定医療費（指定難病）受給者となっている可能性があった。今後は受給対象となれなかった者に対する支援の必要性などについても検討が求められると考えられた。

F. 研究発表

なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

表 1 衛生行政報告例より特定医療費（指定難病）受給者証所持者数，年齢階級・対象疾患別（胆道閉鎖症）

年度	対象疾病	総数	0～9 歳	10～19 歳	20～29 歳	30～39 歳	40～49 歳	50～59 歳	60～69 歳	70～74 歳	75 歳以上	20～29 歳 の増分	30～39 歳 の増分	20～29 歳の 新規増加
2016	胆道閉鎖症	172	1	5	111	42	13	–	–	–	–			
2017	胆道閉鎖症	227	3	9	155	44	14	2	–	–	–	44	2	47
2018	胆道閉鎖症	263	5	9	176	48	20	3	1	–	1	21	4	30
2019	胆道閉鎖症	332	1	13	228	61	24	4	1	–	–	52	13	56
2020	胆道閉鎖症	373	1	5	270	61	30	5	1	–	–	42	0	49
2021	胆道閉鎖症	422	1	10	293	69	42	6	1	–	–	23	8	36
2022	胆道閉鎖症	449	4	8	311	75	43	7	1	–	–	18	6	20
(平均値)			2	8										40

表 2 衛生行政報告例より小児慢性特定疾病医療受給者証所持者数，各歳・対象疾患群別（慢性消化器疾患群）

年度	総数	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
2017	6,592	181	213	207	206	185	219	206	222	213	212	238	264	317	365	447	530	637	729	595	406
2018	7,007	150	230	221	202	222	194	228	220	229	215	245	253	304	362	454	564	667	757	776	514
2019	7,748	158	230	221	218	223	240	211	251	249	257	251	290	323	400	501	606	759	852	826	682
2020	8,518	162	257	234	240	240	229	235	217	259	264	291	312	380	445	512	727	792	946	958	818
2021	8,666	156	218	244	234	223	221	227	243	216	259	271	342	367	459	514	762	893	954	1,014	849
2022	9,410	109	215	220	236	241	247	234	255	263	258	318	337	451	476	642	761	944	1,087	1,106	1,010