

効果的な小児慢性特定疾患治療研究事業の推進に関する研究

総括報告書

分担研究者 柳澤正義¹⁾

研究協力者 加藤忠明²⁾、

神谷 齊³⁾、久野正恵⁴⁾、益本義久⁵⁾、瀧口俊一⁶⁾、倉橋俊至⁷⁾、加部一彦⁸⁾、石澤 瞭⁹⁾、柳川幸重¹⁰⁾、越後茂之¹¹⁾、井埜利博¹²⁾、於保信一⁹⁾、黒田泰弘¹³⁾、青木継稔¹⁴⁾、衛藤義勝¹⁵⁾、成澤邦明¹⁶⁾、桃井真里子¹⁷⁾、山口清次¹⁸⁾、小宮山淳¹⁹⁾、別所文雄¹⁾、矢田純一¹⁹⁾、吉岡 章²⁰⁾

要約：小児慢性特定疾患に対する医療費助成が本人（保護者）の申請により、保健所を窓口として行われることになったのに伴い、同疾患の実態を把握、分析することにより、従来より以上に有効かつ患児に親切的な医療支援を行うことを目的に平成7年度に引き続いて研究を行った。本研究班に課せられたリサーチクエスチョンは、①本研究事業による医療援助対象児の登録と集計解析を継続的に実施するにはどのようなシステムが必要か、②本研究事業対象疾患の最新の治療法等に関する情報を提供するためにはいかにすべきか、というもので、①については昨年度作成した小慢疾患の登録様式案に基づき、医療意見書を4つの県で実際に試用してもらい、その際出された意見をまとめた。その結果、全国的に統一した基準で登録管理を行うためには、診断基準を明確にする必要があり、また、現行制度で新規登録の医療費助成は保健所に申請した日以降となっているが、さかのぼって当該疾患に関する初診日から適用されるようになることが望まれる。小慢疾患の対象年齢や対象疾患に関してもより整理していくことが必要である。

②については、昨年度、慢性腎疾患、内分泌疾患、膠原病をとり上げたのに続いて、本年度は、慢性心疾患、先天性代謝異常、血友病等血液疾患の3疾患群について、現在行われている治療法とその効果の評価などについて研究し、疾患の解説と治療のマニュアル作成について検討した。

見出し語：小児慢性特定疾患、コンピューター登録管理、慢性心疾患、先天性代謝異常、血友病等血液疾患

¹⁾ 東京大学医学部小児科、²⁾ 日本総合愛育研究所母子保健研究部、³⁾ 国立療養所三重病院、⁴⁾ 岐阜県加茂保健所、⁵⁾ 佐賀県鳥栖保健所、⁶⁾ 宮崎県環境保健部、⁷⁾ 足立区足立保健所、⁸⁾ 総合母子センター愛育病院、⁹⁾ 国立小児病院循環器科、¹⁰⁾ 帝京大学医学部小児科、¹¹⁾ 国立循環器病センター第5循環器内科、¹²⁾ 順天堂大学医学部小児科、¹³⁾ 徳島大学医学部小児科、¹⁴⁾ 東邦大学医学部第二小児科、¹⁵⁾ 東北大学大学院病態代謝、¹⁶⁾ 自治医科大学小児科、¹⁷⁾ 島根医科大学小児科、¹⁸⁾ 信州大学医学部小児科、¹⁹⁾ 東京医科歯科大学小児科、²⁰⁾ 奈良県立医科大学小児科

研究目的

平成7年2月の厚生省母子保健課長通知により、小児慢性特定疾患（以下小慢疾患）に対する医療費助成が本人（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。そこで、従来より以上に有効かつ患児に親切的な医療支援を行うことを目的として、昨年度は医療意見書の見直しを行い、新しい登録様式案を作成した。今年度は、それらを一部の地域で試行することにより、各種の問題点について考察を行いながら、小慢疾患の実態を全国的に把握、分析する方式をより具体的に検討した。

また、小慢疾患の最新の治療法などに関する情報を関係機関に提供するための方法を検討することを目的に、昨年度は慢性腎疾患、内分泌疾患、膠原病の3疾患群をとり上げたのに対して、本年度は慢性心疾患、先天性代謝異常、血友病等血液疾患の3疾患群について、それぞれの実態、現在行われている治療法とその効果の評価などについて研究し、疾患の解説と治療のマニュアル作成について検討した。

研究方法

1. 登録管理システム

本研究は、日本総合愛育研究所加藤忠明小児保健部長代理を中心として、医療の立場、保健所の立場、行政の立場からの研究者が加わって、7名の研究協力者により行われた。

昨年度試作した小慢疾患10疾患群毎の医療意見書（診断書）を、三重県、岐阜県、佐賀県、宮崎県で実際に使用または記入してもらい、その際に出された意見をまとめ整理して、問題点を抽出した。

2. 最新の治療法等に関する情報の提供
小慢疾患10疾患群のうち、本年度は慢性

心疾患、先天性代謝異常、血友病等血液疾患の3疾患群をとり上げ、疾患群毎のグループに分かれて、それぞれ実態と治療法などについて調査した。慢性心疾患については、国立小児病院 石澤 瞭医長を中心に5名の研究協力者により、先天性代謝異常については徳島大学 黒田泰弘教授を中心に6名の研究協力者により、血友病等血液疾患については信州大学 小宮山 淳教授を中心に4名の研究協力者により研究が行われた。

結果と考察

1. 登録管理システム

疾患群毎の医療意見書を地域で実際に使用あるいは記入してみた結果、さまざまな意見が出され、それらに基づいて医療意見書自体を修正するとともに以下の点を改善、整備することが必要と考えられた。

全国的に統一した基準で登録管理を行うためには、診断基準を明確にする必要がある。診断のために最低限どのような記入が必要かを示し、現場で判定しやすいようにすること。もう一つは、現行制度では新規登録の医療費助成は保健所に申請した日以降について行われるが、これをさかのぼって初診日以降助成されるようにすべきである。このことは患者の利益になると同時に信頼性の高いデータを得るために必要である。なお、申請された医療意見書を適切に審査する小児慢性特定疾患対策協議会の全国的な整備が望まれる。

現在、各都道府県市の小慢疾患治療研究事業の運用は極めてばらつきが大きい。各自治体で医療費助成の範囲を広げたり、乳幼児医療費助成や公害認定などほかの助成を行っていることが関係しているが、地域差をより少なくするために、医師の卒後教育の中で、各種の給付、助成制度を十分に指導する必要がある。また、小慢疾患の対象疾

患や対象年齢に関して、より整理していくことが必要である。対象疾患に加えるべき疾患が残されている一方で、現在の対象疾患の中で最も頻度の高い2疾患について問題点が指摘された。

成長ホルモン分泌不全性低身長症（下垂体性小人症）は、登録人数が最も多く、ほかの疾患と同様地域差が大きい。申請に成長科学協会の治療適応判定書をつけることを求めている県とその必要のない県とがある。人員数が多いだけでなく、治療に用いる成長ホルモンの薬価が高いために小慢疾患治療研究事業としての医療費支給の非常に大きな部分を占めている。

気管支喘息は、登録人数に関して最も地域差の大きな疾患である。小慢疾患としての「ぜんそく」は「1か月以上の入院を必要とするものに限る」となっているが、入院の時点で入院期間がどのくらいになるか予測は困難で、現場で混乱しやすい。また東京都の「大気汚染にかかわる医療費助成制度」など通院も認める助成制度がある都道府県ではほとんど小慢疾患として申請されていない。小慢事業としながらも県単独事業として通院も認めている県も存在する。このような点が地域差の大きな理由であろう。

来年度は、以上の本年度の研究結果に基づいて修正した医療意見書を研究協力者の属する県、保健所において試用し、登録・集計・解析システムの有用性と問題点を明らかにし、全国的、継続的実施への提言を行う予定である。

2. 最新の治療法等に関する情報の提供

1) 慢性心疾患

小慢疾患としての小児慢性心疾患は、①血行動態の異常を伴う心、血管または肺の解剖学的奇形および変形、②収縮刺激の生成系または伝導系の異常、を有する疾患について

内科的治療が対象となる。本疾患群として、88の疾患名が挙げられているが、マニュアルの作成に関して、このうち重要なもの46疾患を選び、それぞれの疾患の重要性からAランク、Bランクに分けた。原則として1項目毎に図を入れて分かりやすく解説し、生活指導の中に術後の経過観察、生活指導の重要性を強調することとした。

研究協力者の個別研究として、(1)末梢性肺動脈狭窄に対する体肺短絡経由の経皮的バルーン血管形成術の検討（石澤、於保）、(2)大動脈狭窄症に対するバルーン拡張後の血管修復機序（井埜）、(3)大動脈弁狭窄に対する経皮的バルーン弁形成術の中・長期予後（越後）、(4)致死的な先天性心疾患の予後診断の検討：とくに左心室閉塞性疾患について（柳川）、が行われた。

2) 先天性代謝異常

小慢疾患の対象疾患としては、55の疾患名が挙げられているが、その他に、特定の欠損（活性異常）酵素名を冠したすべての疾患名が対象となるので、非常に多数の疾患が給付の対象となっている。マニュアル作成に当たって、まず疾患を、①アミノ酸代謝異常群、②プリン・ピリミジン代謝異常群、③ムコ多糖代謝異常等群、④糖質代謝異常等群、⑤脂質代謝異常群、⑥有機酸代謝異常等群の6群に分類した。

上記各群に属する疾患の頻度、最近改訂された診断法・治療法、最近新しく開発された診断法・治療法等に関する情報を文献検索等により収集した。収集した情報に基づいてマニュアルに掲載するための疾患を各群毎に5～10疾患選出した。以上により選出された各疾患について、研究協力者が分担してマニュアルを執筆する。

3) 血友病等血液疾患

対象となる疾患は、①赤血球・白血球・

リンパ球・組織球・血小板および芽球・幹細胞の異常、②骨髄・リンパ組織系の異常、③血管壁・凝固系因子の異常、④血漿蛋白の異常、となっていて、疾患名として130以上に及ぶ病名が挙げられている。これらを赤血球系疾患、白血球系疾患、免疫不全症、血小板・凝固系疾患、に分けてマニュアルを作成する。

研究協力者による個別の研究として、(1)長期間にわたる赤血球輸血によるヘモジデロシスの予防（別所）、(2)好中球減少症に対する造血因子による治療（小宮山）、(3)重症免疫不全症に対するT細胞除去骨髄移植または非血縁者間骨髄移植の検討（矢田）、(4)日本人の血友病Aについての遺伝子診断（吉岡）が行われた。

以上、昨年度と本年度とに行われた6疾患群についての研究に続いて、来年度は、悪性新生物、ぜんそく、糖尿病、神経・筋疾患の4疾患群について、疫学、最新の治療法等についての研究を行い、解説と治療に関するマニュアルを作成し、平成7、8年度の成果と合わせて小慢疾患の治療に役立つマニュアルをまとめる。



検索用テキスト OCR(光学的文字認識)ソフト使用

論文の一部ですが、認識率の関係で誤字が含まれる場合があります



要約:小児慢性特定疾患に対する医療費助成が本人(保護者)の申請により、保健所を窓口として行われることになったのに伴い、同疾患の実態を把握、分析することにより、従来より以上に有効かつ患児に親切的な医療支援を行うことを目的に平成7年度に引き続いて研究を行った。本研究班に課せられたリサーチクエストは、(1)本研究事業による医療援助対象児の登録と集計解析を継続的に実施するにはどのようなシステムが必要か、(2)本研究事業対象疾患の最新の治療法等に関する情報を提供するためにはいかにすべきか、というもので、(1)については昨年度作成した小慢疾患の登録様式案に基づき、医療意見を4つの県で実際に試用してもらい、その際出された意見をまとめた。その結果、全国的に統一した基準で登録管理を行うためには、診断基準を明確にする必要があり、また、現行制度で新規登録の医療費助成は保健所に申請した日以降となっているが、さかのぼって当該疾患に関する初診日から適用されるようになることが望まれる。小慢疾患の対象年齢や対象疾患に関してもより整理していくことが必要である。

(2)については、昨年度、慢性腎疾患、内分泌疾患、膠原病をとり上げたのに続いて、本年度は、慢性心疾患、先天性代謝異常、血友病等血液疾患の3疾患群について、現在行われている治療法とその効果の評価などについて研究し、疾患の解説と治療のマニュアル作成について検討した。