

特集：公衆衛生分野での観察研究による新たなアプローチ  
—データベース研究によるエビデンスの創出に向けて—

<総説>

小児慢性特定疾病児童等データベースの概要

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

Database research on the specified chronic pediatric disease data

MORIICHI Akinori

Division of Specific Pediatric Chronic Diseases, Research Institute, National Center for Child Health and Development

抄録

子どもの慢性疾病に対する国の医療費等助成施策である小児慢性特定疾病対策では、申請時に提出される専用の医師の診断書である医療意見書に記載されている臨床情報をデータベース化しており、疾病研究等の二次利用が可能となっている。

現在 788 対象疾病であり、小児期の慢性疾患のほぼ全てを網羅する世界的にも類を見ない巨大な小児疾病登録データベースとなっている。

希少疾病を多く含むことから、縦断データとして利用できるよう、データベース内部で症例単位に確率論的レコードリンケージにより同一症例を推定することが可能な設計となっているのが特徴である。

2023 年 10 月からは、個人単位被保険者番号の履歴ハッシュ値による匿名化された個人識別情報 (ID5) の付与ができるようになり、同じ仕組みを持つ指定難病患者データベースや診療情報明細書大規模データベース (NDB) などの他のナショナルデータベースとのリンケージも今後可能となり、小児の慢性疾患に関する疾病研究が進むことが期待される。

キーワード：疾患レジストリ、医療費助成、二次解析

Abstract

The Ministry of Health, Labour and Welfare has established a database that accumulates medical information obtained from the exclusive medical certificates provided by physicians for applying for medical expense subsidies for children with chronic diseases. These data are available for secondary use, including disease research.

The large database covers 788 diseases, including almost all chronic pediatric diseases and many rare diseases. Its unique design allows the estimation of the same cases by probabilistic record linkage within the database, enabling its use as longitudinal data.

From October 2023, it will be possible to assign new anonymized personal identification information (ID5) based on the historical hash value of the individual unit-insured person number.

連絡先：盛一享徳

〒157-8535 東京都世田谷区大蔵2-10-1

2-10-1 Okura, Setagaya, Tokyo 157-8535, Japan.

Tel: 03-5494-7120 (内線4265)

Fax: 03-3417-2694

E-mail: moriichi-a@ncchd.go.jp

[令和5年9月8日受理]

Linkage with other national databases, such as the National Database of Designated Incurable Diseases and health insurance claims data, which have the same mechanism, is expected. Access to chronic pediatric disease data can surely enable further research on such diseases.

**keywords:** disease registry, medical expenses aid, chronic conditions

(accepted for publication, September 8, 2023)

## I. はじめに

慢性疾患を抱える子どもたちへの医療費等の国の支援施策である小児慢性特定疾病（以下、小慢）対策は、国が定めた対象疾病に罹患しており、かつ、厚生労働省告示に示されている症状等の要件（疾病の状態の程度）を満たしている症例に対し医療費等の支援が行われる制度である。対象疾病は現在 788 告示疾病となっており、小児期の慢性疾患をほぼ網羅している。

小児慢性特定疾病に対する助成を申請する際には、対象疾病ごとに専用の様式が提示されている医師の診断書である「医療意見書」を提出する必要がある。医療意見書には、対象疾病の診断根拠や現在の状況、治療の内容に関する疾病情報が記載されており、患者（保護者）の同意が得られた症例について、医療意見書の内容が電子データ化され、疾病研究等の二次利用が可能な小児慢性特定疾病児童等データベース（以下、小慢データベース）として蓄積されている。

本稿では 2023 年度末まで利用される現行の小慢データベース登録システムの仕組みを中心に、指定難病患者データベースとプラットフォームが共通化され、2023 年 10 月より稼働開始される次期小慢データベース登録システムについても合わせて概説する。

## II. 小児慢性特定疾病児童等データベースの概要

### 1. 小児慢性特定疾病対策の歴史[1]

本制度の始まりは古く、1968 年以降順次開始された先天代謝異常、血友病、小児がん、慢性腎炎・ネフローゼ症候群、小児喘息といった疾患別の治療研究事業を統合し、糖尿病、膠原病、慢性心疾患、内分泌疾患を加えた 9 疾患群を対象として 1974 年に創設された小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、旧制度）を起源としている。旧制度は 1990 年に神経・筋疾患を加え、2005 年に慢性消化器疾患を加えた 11 疾患群 514 告示疾病へ対象を拡大するとともに、児童福祉法に基づく事業として法制化が行われた。さらにそれまでは裁量経費により運用される事業であり、財政基盤が脆弱であったが、2015 年に法改正が行われ義務的経費による財政基盤の安定化が図られるとともに、対象疾病を拡大し 14 疾患群 704 告示疾病へと拡大した新たな小児慢性特定疾病対策として現行制度が開始された。その後も対象疾病の追加検討が実施され、徐々に対象疾病が拡大され、現在は 16 疾患群 788 告示疾病が対象となっている（表 1）。

小児慢性特定疾病対策は国の事業であるが、実際の施策運用は都道府県、指定都市、中核市及び児童相談所設置市（特別区を含む）で行われており、小慢施策の運用

表 1 主な小児慢性特定疾病

疾患群	対象疾病の例
悪性新生物	白血病、骨髄異形成症候群、リンパ腫、組織球症、固形腫瘍、中枢神経系腫瘍
慢性腎疾患	ネフローゼ症候群、慢性糸球体腎炎、腎奇形、尿路奇形など
慢性呼吸器疾患	気道狭窄、慢性肺疾患、気管支喘息、先天性中枢性低換気症候群、先天性横隔膜ヘルニアなど
慢性心疾患	先天性心疾患（ファロー四徴症、単心室症、三尖弁閉鎖症など）、不整脈、心筋症、川崎病性冠動脈瘤など
内分泌疾患	成長ホルモン分泌不全性低身長症、先天性甲状腺機能低下症、思春期早発症など
膠原病	若年性特発性関節炎、全身性エリテマトーデスなど
糖尿病	1 型糖尿病、2 型糖尿病、MODY など
先天性代謝異常	ウィルソン病、ミトコンドリア病、フェニルケトン尿症、家族性高コレステロール血症など
血液疾患	血友病、免疫性血小板減少性紫斑病、再生不良性貧血、遺伝性球状赤血球症など
免疫疾患	X連鎖重症複合免疫不全症、分類不能型免疫不全症、好中球減少症、慢性肉芽腫症など
神経・筋疾患	ウエスト症候群、もやもや病、結節性硬化症、脊髄髄膜瘤、筋ジストロフィーなど
慢性消化器疾患	胆道閉鎖症、潰瘍性大腸炎、クローン病、先天性胆道拡張症、ヒルシュスプルング病、総排泄腔遺残など
染色体及び遺伝子に変化を伴う症候群	ダウン症候群、18トリソミー、マルファン症候群、チャージ症候群、アンジェルマン症候群など
皮膚疾患	神経線維腫症、色素性乾皮症、眼皮膚白皮症、表皮水疱症、先天性魚鱗癬など
骨系統疾患	骨形成不全症、軟骨無形成症、軟骨低形成症、低ホスファターゼ症など
脈管系疾患	リンパ管腫、リンパ管腫症、カサバツハ・メリット現象、オスラー病など

を行っている自治体を実施主体と呼ぶ。小慢における医療費助成等の支出は国と実施主体が1/2ずつ負担しており、申請及び認定審査は居住地の実施主体で行われる。

## 2. 医療意見書のデータベース化の歴史

小慢では疾病に関する疾患情報を記した専用の医師の診断書である医療意見書を申請時に提出することが必要である。医療意見書の記載事項は電子データ化され、疾病研究等の二次利用が可能となっている。旧制度では1998年に医療意見書様式が全国的に統一され、医療意見書の記載内容を実施主体においてコンピュータ入力し、電子媒体にて厚生労働省へ提出され、集められたデータを統合しデータベース化することが行われてきた[2]。この方法により全国的なデータ収集が可能となったが、実施主体における入力作業の負担が大きく、また入力時のヒューマンエラーが多かったこと、さらに2015年の制度改正において、対象疾病の大幅な拡大や医療意見書項目の見直しによる情報の精緻化が行われたこと等から、現行制度では実施主体における入力作業を廃止し、全国の実施主体から医療意見書の写しを国立成育医療研究センター内に設置された医療意見書登録センター（以下、登録センター）へ発送し、トレーニングされた入力者が電子データ化を行う運用に改められた[3]。

## 3. データ登録までの流れ

実施主体に小慢申請が行われてから電子データ化されるまでには、通常1年以上のタイムラグが生じる。登録対象となる医療意見書は、実施主体における審査で認定され、かつ登録データの二次利用に同意されたものである。申請から審査、そして医療意見書の写しの発送までには、通常数か月以上の時間を要する場合が多い。登録センターが実施主体から受領した医療意見書の写しは、入力作業前に記載内容に漏れや判読不能箇所など不備がないか確認が行われ、適宜送付元の実施主体に対し疑義照会や再提出依頼が行われる。また実施主体ごとに医療意見書の写しの発送時期が大きく異なっていることから、1年分のデータが集まるまでにはかなりのタイムラグが生じる。現行制度は2015年から開始されているため、登録データは2015年分から存在していることとなるが、データ登録事業は2017年から遅れて開始されており、また2020年から2021年にかけては新型コロナウイルス感染拡大により、実施主体からの医療意見書の写しの送付やデータ登録業務の実施が困難となっていた。このため本稿執筆時点では、2015年から2018年まではほぼ登録が完了しており全国データと見做せる状況であるが、2019年以降は登録状況が不安定であるため、データ利用を考える際には留意する必要がある。とくに直近1年ほどは医療意見書の写しが送付されてない場合も多い。

## 4. 小児慢性特定疾病児童等データベースの特徴

2015年から始まった現行制度のため小慢データベース登録システムが開発された。本登録システムは、当時開発が先行していた指定難病患者データベースの仕組みを流用し拡張したものとなっている。なお現在の指定難病患者データベースは、開発過程で設計方針が見直されたため、小慢データベース登録システムとは設計理念が異なっている。

## 5. 医療情報を蓄積するためのデータベース設計

医療分野では必要とされる項目が頻繁に修正・変更される。一般的にデータベースとして利用されることの多いリレーショナルデータベースは、事前にスキーマ定義が必要で登録される項目の詳細が確定している必要がある。このため項目が修正される度に、スキーマ定義を変更しデータベースを再構築しなければならない。また医療情報の多くは階層概念が内包されているため、二次元テーブルを基本とするリレーショナルデータベースの構造は、医療情報の保持には不利な構造である。このため小慢データベースは、階層構造を持ち、かつキーバリュー形式でデータを保持できる非リレーショナルデータベースを用いて構築された。

## 6. 医療意見書の構造

医療意見書の項目は、単に医療費助成の対象可否のために必要な項目だけではなく、患者の状況が医学的に評価できる最低限の項目が集められた、疾病ごとのミニマムデータセットとなっている。患者基本情報を中心とした疾患共通部分と疾病固有の情報からなる疾病部分の二つで構成されており、共通部分には氏名、生年月日、性別といった一般的な基本情報に加えて、小児領域の特有の基本情報として、出生体重、出生週数、出生したところ、といった情報が含まれている。また就学・就労状況、身体障害者手帳取得の有無、運動制限の必要性の有無など自立・社会参加状況を把握するための項目も含まれる。疾病情報部分は、症状、検査所見、合併症、治療状況から構成されており、症状及び検査所見は診断時点の内容と申請時点の内容を分けて記載することで、診断の確からしさ及び現在の状況を客観的に評価できるようになっている。症状の項目は原則選択式となっているが、適宜自由記載欄を設け、患者の状態をより詳細に説明できるようになっている。検査所見は、測定値等を数値等で具体的に記載することを原則としており、登録情報を研究目的等で二次解析する際に定量的な評価ができるようになっている。各項目は可能な限り疾病横断的に共通した項目名と記載様式となっており、疾病単位の評価だけでなく、項目単位の評価ができるよう調整されている。医療意見書様式は小児慢性特定疾病情報センターウェブサイト (<https://www.shouman.jp/>) から取得できる。

## 7. データベースの構造定義

医療意見書の項目は、全対象疾病を疾病横断的に共通化することを目指して構築されている。例えば、「白血球数」という項目は、「検査所見」→「血液検査」→「白血球数」という階層構造を持つ項目アイテムとして定義され、登録される内容は「/μL」を単位とした数値を保持すると定義されている。「白血球数」という項目を利用する疾病は全て、この共通化された項目が用いられる。白血球数増加/減少といった医師の判断が加わるような情報は原則として取得せず、第三者が客観的に判断できる情報を保持する方針となっている。

## 8. データベース—入力フォーム—医療意見書様式のシームレスな関係

小慢では医療意見書の項目が同一の疾患群内では、類似する機会が多いことから、疾患群単位でデータ構造の定義ファイルを作成している（以下、データ整理票）。小慢施策運用の面から紙媒体の医療意見書様式が必要となるため、紙媒体の医療意見書とそれを登録するデータベース、そしてデータベースにデータ登録するために必要となる入力フォームの三者がシームレスに連動している必要がある。このために階層構造を持つデータ整理票からコンバータを経由してXML形式ファイルを中間ファイルとして生成する。このXML形式ファイルから、非リレーショナルデータベースであるデータベースの構造が決定されるとともに、ウェブアプリケーションとして稼働する入力フォームもXML形式ファイルからHTML形式ファイルを生成することで構築される。さらにXML形式ファイルから紙媒体の医療意見書用のファイル形式（InDesign形式）をコンバートし生成できるようになっている。

## 9. 症例レコードの確率論的名寄せ

小児慢性特定疾病は大半が希少疾病であり、大規模な症例集積が困難なため、個別の症例を経時的に蓄積した縦断的研究が重要となる[4]。小慢では申請実施主体ごとに受給者番号が付与されるが、継続申請であっても必ずしも毎年同じ受給者番号が付与されるとは限らず、また実施主体によっては受給者番号の採番ルールに準拠していない場合があること、転居等にて申請実施主体が変わった場合は、受給者番号の連続性が失われること、などから受給者番号の完全一致を利用した症例識別では、データの連続性の確保は困難であることが分かっていた[5]。また小児例では家庭環境の変化により姓が変わる機会なども多く、成人と比較して氏名が個体識別子としてうまく機能しない。そこで氏名や受給者番号に寄らない名寄せ方法が必要となった。我が国で出生した子どもは、全例母子健康手帳を保有していることから、母子健康手帳の記載項目のうち変動がない項目を組み合わせることによって、確率論的に名寄せを行う方法が導入された[6]。現在の小慢データベースでは、生年月日、性別、

出生体重、出生週数、出生地（出生時に住民登録をしたところ）の5つの項目をキー項目とし、これらの組み合わせが確率論的に同一であると見做せれば同一症例である判断する名寄せを行っている。この方法は、生年月日や出生体重等の数値の間違い、性別の間違いなども加味した上で、同一であると思われる確率を算出するため、完全一致だけでなく類似するパターンも評価することが可能となる。データ提供の際に同一症例と判断されたレコードに、同一の研究用IDを付与しており、研究者はこれを参考に同一症例であるかを検討することが可能となっている。

## 10. 登録データの二次利用

現行制度となった2015年以降の小児慢性特定疾病児童等データの研究等目的のための二次利用については、厚生労働省ウェブサイト「指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病児童等データベースに関するホームページ」([https://www.mhlw.go.jp/stf/nanbyou\\_teikyo.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/nanbyou_teikyo.html))に登録データ利用に関する情報が掲載されている。指定様式を申請窓口へ提出し、審査の上、利用が適切と判断された場合はデータ提供が行われる。

提供されるデータは1枚の医療意見書が1行のレコードとなっているtsv形式（タブ文字区切り）のテキストファイルとして提供される。文字コードはUTF-8となっている。一般的な表計算ソフトウェアや統計ソフトウェアにも容易にインポート可能である。現行登録システムから出力されるデータについては、データファイルに簡易的なヘッダが付与されているが、多くの項目はアイテムIDという項目識別子の状態になっているため、併せて提供されるデータ構造ファイルを参照し、項目ラベル名や値の定義を確認する。

提供されるデータについては、ダブルチェックが実施されており入力時の誤りは極力低減されている。電子化にあたっては医療意見書に記載されている内容をそのまま電子化することを原則としているため、医療意見書に誤りである可能性がある記載があったとしても、原則としてそのまま電子データ化されている。データ提供時に抽出したレコードに特記事項があった場合は、提供データとともに情報提供を行う場合がある。例えば、同一の申請と思われるレコードが複数登録されていた場合などである。入力対象となる医療意見書の写しには、固有番号が付与されるため、受領した同一の医療意見書が複数回入力されることはないが、実施主体が同一の医療意見書を誤って後日送付した場合や、同一の申請であっても疑義照会等により医療意見書が差し替えられた場合などで、レコードの重複が生じる場合がある。データ提供時には名寄せを実施しているため、同一症例で同一申請と思われるレコードが複数抽出された場合、レコードが完全一致している場合に限り、一方のレコードを削除して提供している。一方、何らかの差異が認められた場合は、レコード重複の可能性のある旨を申請者に情報として伝

え、レコードは削除せずそのまま提供している（レコードをどのように処理するかは利用者の判断に委ねている）。

### III. 次期登録データベースの概要

#### 1. データベースの法制化

法改正により小慢データベースの法的根拠が新設され、2024年4月1日から国による情報収集及び患者等の同意に基づく都道府県等の国への情報提供が義務化される。またNDB等の他の公的データベースとの連結解析も可能となる。データリンケージを念頭に置いて、新たに第三者提供に関するガイドラインが作成される予定であり、研究班等による研究目的利用だけでなく、民間企業における利活用についても検討が予定されている[7]。

#### 2. 次期小児データベースの特徴

2023年10月より次期小慢データベース登録システムが稼働する予定である。新しい小慢データベース登録システムでは、指定難病患者データベースとプラットフォームの共通化が図られるとともに、オンライン登録に向けた実装が行われた点が、現行システムとの大きな違いとなる。現在の小児慢性特定疾病及び指定難病の患者登録は、紙媒体の医療意見書／臨床調査個人票を人手で電子化する運用が中心となっている。入力作業には人的・物的コストがかさんでいることから、申請医が情報をオンラインで入力するオンライン登録の実現が改めて目指された。次期登録システムの開発に際し、小慢と指定難病のプラットフォームの共通化が実施された（患者基本情報の一部で項目の共通化が行われたが、疾病情報の共通化は実施されていない）。

現行の小慢データベース登録システムは、開発途中から設計方針が変更された指定難病患者データベースと構造が大きく異なるものとなっていた。次期データベースの開発にあたり、小慢データベースが採用していた非リレーショナルデータベースの構造は採用されず、一般的なリレーショナルデータベースが採用された。一方でデータ構造の変更に対応するため、データを通常の横持ちではなく縦持ち構造とされた。

#### 3. オンライン登録の実施

次期小慢データベース登録システムは、医療機関の申請医がインターネットに接続ができるようであれば、インターネット経由で登録システムが提供する入力フォームを用いてデータ登録ができる仕組みとなっている。一方、比較的規模の大きい医療機関では、院内情報システムはインターネットから分離独立しているのが一般的であり、また医療意見書は文書管理システムを利用して作成している施設も多い。このため次期登録システムが提示する定められた様式に従うXML形式データを文書管理システム等から一括出力し、外部ネットワークに接続

可能な端末から登録システムにデータを一括登録することも可能となっている。ただし院内情報システムの改修等が必要となるため、全ての医療機関がオンライン登録を実施するには、しばらく時間を要すると思われる。実施主体に置いてもデータ入力が発生するが、行政機関に導入されている閉鎖網であるLG-WAN経由で登録システムに接続できることから、行政側のオンライン入力については、比較的スムーズに対応が進むものと思われる。

#### 4. 次期登録システムにおける紙媒体で提出された医療意見書の取り扱い

これまでは国立成育医療研究センター内に設置された登録センターに、紙媒体の医療意見書の写しが集められ、入力作業を行っていた。旧制度と比較し、実施主体の負担はある程度軽減されたが、大量の医療意見書の写しの準備及び発送という人的・経済的コストがかかること、また登録センターにおいても紙媒体の大量の医療意見書を人手で電子化しなければならず、大きなコストが生じていることなどから、オンライン登録の実現が望まれていた。現行システムにおいても開発当初はオンライン入力が目指されていたが実施は見送られた。昨今の政府全体のデジタル化推進の方針に呼応し、ようやくオンライン登録に向けた動きが本格化してきた。次期システム稼働後は、申請医が電子データで申請を行った場合は、実施主体も電子データとして処理することとなり、そのまま登録データとしてデータベースに蓄積される。一方、申請が紙媒体で行われた場合は、紙媒体の医療意見書を実施主体でスキャンし、画像データ（PDF形式ファイル）として登録システム内ストレージにアップロードする。登録センターではスキャンされた医療意見書を参照し、人手で電子データ化することが想定されている。また全ての医療機関が新様式の医療意見書を利用開始するまでには、しばらく時間を要するものと思われる。現行の医療意見書での申請が行われた場合には、医療意見書の写しを登録センターへ発送するという従来の手続きが継続することを想定している実施主体が多い。従って登録センターでは、紙媒体の医療意見書の写しを受領する場合、次期登録システム内にアップロードされた紙媒体のスキャンデータを受領する場合、完全オンラインで登録されたデータを受領する場合、の3つのパターンに対応しなければならない。

#### 5. 次期登録システムから出力される二次利用データの特徴

次期システムからは他のナショナルデータベースとのデータ連携の実現が目指されたことから、医療意見書の基本情報の中に、被保険者番号が記録されることになった。被保険者番号には枝番も付与されるため、症例単位の識別が可能となっている。社会保険診療報酬支払基金及び国民健康保険団体連合会において被保険者番号の履歴が管理されることとなり、症例が加入している健康保

険に変更が生じた場合でも追跡できるとされている。次期登録システムでは、この被保険者番号を加工して生成されるID5と呼ばれる識別子が各レコードに付与される。またカナ氏名、生年月日、性別を元に生成されるID4と呼ばれる識別子も付与可能となる。なお被保険者番号は2023年10月以降に利用開始となる新しい医療意見書様式から取得開始される項目となるため、それ以前の様式による申請の場合、ID5は生成されない。

## 6. 次期システム移行に伴う課題

次期システムにおけるオンライン登録は、インターネットを介した接続を前提としていることから、直接登録データベースに登録できる環境は限られると予想される。小慢申請は地域の基幹病院や大学病院など、比較的規模の大きな医療機関が中心となっていることから、小慢申請においてオンライン登録がどの程度進むのかは現時点では未知数である。

データの構造定義の中心となるデータ整理票の保守も現行システムから引き続き課題である。複雑な構造を持つデータ整理票は、構造を熟知した医師とエンジニアにより作成されており、作成に非常に手間がかかっている。次期システムにおいてもこの問題は解決されておらず、データ整理票の作成支援環境の開発が望まれる。

次期システムでは、前述の確率論的名寄せ機能が実装されなかったことから、今後はデータ提供において名寄せ済みデータの提供が難しくなると思われる。また次期システムは、データベース構造が現行システムと大きく異なることを理由に、現行データベースのデータ取り込みが行われず、このため現行データベースの運用が停止した後は、研究等のためのデータ提供が困難になること予想されるため、現在登録システムの世代を超え登録データの再利用が可能となるよう、提供用データベースを並行して開発中である。

次期システム運用開始に合わせて、2023年10月より項目が追加された新しい医療意見書様式が公開された。次期システムはこの新しい医療意見書以降の様式マスタのみに対応し、過去の様式マスタは用意されない。医療機関から提出される医療意見書様式が新様式に置き換わるまでには時間がかかることが予想され、オンライン登録までにはさらに時間を要すると考えられる。従って、登録センターにおける登録業務が安定化するまでにも時間を要するだろう。

## IV. 今後の方向性

### 1. 指定難病患者データベースとのリンケージ

本稿執筆時点ではデータの二次利用における制約から、小慢登録データベース及び指定難病患者データベースの双方から抽出されたレコードの直接リンケージを行うことは難しいと整理されている。今後改正法が施行され、新しいデータベース利用ガイドラインが運用開始された

場合には、この問題が解決されることが期待される。

指定難病患者データベースでは、名寄せに利用できるキー項目となりうる基本情報に限界がある。小児期では比較的取得が容易である出生体重や出生週数などの固有キーの利用が難しいためである。氏名は小児期と成人期とで異なる場合もあり、また若年者の場合は居住地が変化することも多いため、氏名や住所は識別子とはなりづらい。このような状況の中で、被保険者番号履歴を利用したID5による突合は、リンケージが難しい小慢データベースと指定難病患者データベースとを確実につなぐことができる技術として期待される。

### 2. 他のナショナルデータベースとのリンケージ

小慢では診断方法を記した診断の手引きが公開されているとともに、申請にあたっては医療意見書において診断時と申請時の情報の提示が求められ、審査会により認定審査が行われている。このため対象疾病の診断の確度は高いと考えられる。今後他の公的データベースとのデータ連結が可能となれば、疾病研究が大きく進む可能性がある。診療報酬明細書データとの連結が可能となれば、NDBの弱点であった診断名の確度について、小慢児童等データで補完することが可能となる。さらに小慢データにはアウトカム指標となりうる項目も含まれていることから、NDBデータ構造の限界から取得が困難な患者アウトカムの評価についても、小慢児童等データをアウトカムとして利用できる可能性がある。逆に小慢児童等データでは治療状況は概要しか分からないが、NDBデータと連結することで詳細な治療記録が把握できる可能性がある。以上のようにナショナルデータベースとの連携により、疾患研究が大きく進む可能性が広がっており、小慢データベースのより積極的な利活用が期待される。

## 利益相反

利益相反なし

## 引用文献

- [1] 盛一享徳. 小児慢性特定疾病と指定難病. 腎と透析. 2021;91(1):39-43.  
Moriuchi A. [Shoni mansei tokutei shikkan to shitei nambyo.] *Kidney and Dialysis*. 2021;91(1):39-43. (in Japanese)
- [2] 加藤忠明. 小児慢性特定疾患医療. 小児内科. 2008;40(7):1091-1095.  
Kato T. [Shoni mansei tokutei shikkan iryo.] *Japanese Journal of Pediatric Medicine*. 2008;40(7):1091-1095. (in Japanese)
- [3] 盛一享徳. 小児慢性特定疾病児童等データベースの現状と活用. 小児科臨床. 2021;74(6):621-627.  
Moriuchi A. [Shoni mansei tokutei shippei jido to data-

- base no genjo to katsuyo.] Japanese journal of pediatrics. 2021;74(6):621-627. (in Japanese)
- [4] Izem R, McCarter R. Randomized and non-randomized designs for causal inference with longitudinal data in rare disorders. *Orphanet J Rare Dis.* 2021;16(1):491. <https://doi.org/10.1186/s13023-021-02124-5>
- [5] 森臨太郎. 小児慢性疾患対策の検討及びデータの精度向上に関する研究. 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 (健やか次世代育成総合研究事業)「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」(研究代表者:横谷進. H25-次世代-指定-002)平成27年度総括・分担研究報告書. 2016. p.143-145.
- Mori R. [Shoni mansei shikkan taisaku no kento oyobi data no seido kojo ni kansuru kenkyu.] Health research on Children, Youth and Families, Health, Labour and welfare Sciences Research Grants. “Kongo no shoni mansei tokutei shikkan chiryo kenkyu jigyo no arikata ni kansuru kenkyu” (Kenkyu daihyosha: Yokotani Susumu. H25-Jisedai-Shitei-0025) Heisei 27 nendo sokatsu / buntan kenkyu hokokusho. 2016. p.143-145. (in Japanese)
- [6] 森臨太郎. 小児慢性特定疾患データの質向上のための個人連結番号に関する研究. 厚生労働科学研究費補助金正位疾患克服等次世代育成基盤研究事業 (健やか次世代育成総合研究事業)「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」(研究代表者:横谷進. H25-次世代-指定-002)平成26年度総括・分担研究報告書. 2016. p.261-263.
- Mori R. [Shoni mansei tokutei shikkan data no kojo no tameno kojin renketsu bango ni kansuru kenkyu.] Health research on Children, Youth and Families, Health, Labour and welfare Sciences Research Grants. “Kongo no shoni mansei tokutei shikkan chiryo kenkyu jigyo no arikata ni kansuru kenkyu” (Kenkyu daihyosha: Yokotani Susumu. H25-Jisedai-Shitei-0025) Heisei 26 nendo sokatsu / buntan kenkyu hokokusho. 2016. p.261-263. (in Japanese).
- [7] 厚生労働省. 第70回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・第1回社会保障審議会小児慢性特定疾患対策部会小児慢性特定疾患対策委員会 (合同開催). 資料1改正法の成立, 施行について.
- Ministry of Health, Labour and Welfare. [Dai 70 kai Kosei Kagaku Shingikai shippei taisaku bukai nambyo taisaku iinkai / dai 1 kai shakai hosho shingikai shoni mansei tokutei shippei taisaku bukai shoni mansei tokutei shippei taisaku iinkai (good kaisai). Shiryo 1 kaiseiho no seiritsu, shiko ni tsuite.] <https://www.mhlw.go.jp/content/10905000/001118841.pdf> (in Japanese) (accessed 2023-08-31)