

下垂体性小人症の治療システムの 現状と問題点

(分担研究：内分泌疾患児の生活管理・指導に関する研究)

田中敏章

要約：現在下垂体性小人症の治療システムは、主治医は成長科学協会に治療適応申請を提出して、適応判定を受けて治療を開始し、1年毎に治療成績報告書を提出することになっている。成長科学協会における治療適応者の登録数は、1992年末で19,444名に達している。しかし、治療成績報告書の提出率が悪く、実際現在何名治療されているかの把握は、十分ではない。成長科学協会では、治療成績報告書の提出率をあげるために、1993年度より毎年登録番号を更新する改革をおこなった。

見出し語：下垂体性小人症、成長ホルモン治療、成長科学協会、適応判定

【成長ホルモン治療と成長科学協会】

小児特定疾患である下垂体性小人症は、成長ホルモンがその治療法である。成長ホルモン治療は、わが国では1975年より正式に始められ、当初は下垂体より抽出していたため需要を充たすことができなかつたため、日本小児学会と日本内分泌学会より推薦された28名の専門家で「下垂体性小人症治療委員会」を発足させ、成長ホルモンの公正な分配につとめた。1977年に、適応判定事業、ヒトの成長の研究とその助成、ヒト下垂体の収集と提供者登録事業を目的として成長科学協会が設立されて、下垂体性小人症治療委員会は成長科学協会の下部機構に入った。1985年に、遺伝子工学によ

る成長ホルモン製剤の供給が突然潤沢になり、成長科学協会は下垂体収集作業は中止した。しかし、成長科学協会では適応判定の作業量が増えたため、適応判定委員会を組織し、厚生省の間脳下垂体障害調査研究班が作成した「下垂体性小人症診断の手引き」を基礎にして適応判定基準を作成し、コンピュータによる登録システムを導入して、適応判定作業の迅速化を計っている。また、適応判定基準も、厚生省の研究班の改訂にともない、何回もの改訂を重ねている。

成長ホルモン製剤の供給は十分になったが、成長ホルモン製剤は薬価が高く、その無用な使用は健康保険組合や地方自治体の財政を不必要に圧迫

国立小児病院小児医療研究センター内分泌代謝研究部:Department of Endocrinology & Metabolism

National Children's Medical Research Center

し、また乱用の危険性も高い。現時点での成長科学協会の適応判定事業は、「医師および患者は診断について second opinion を求める権利があり、成長科学協会の適応判定委員会は、主治医の申請に応じてその診断にたいして second opinion を提供する」という立場で申請医に対して専門家集団としての second opinion を提供するということで継続されている。

【適応判定作業の実際】

主治医は、定められた成長ホルモン治療適応判定申請用紙に必要事項を記入して、成長科学協会に郵送する。申請書が届くと事務担当職員がこれをコンピュータにインプットし、内臓プログラムにより適応あり・適応なし・保留のいずれかに判定され、保留と判定されたものを除いてはただちに主治医に判定結果が郵送される。保留と判定されたものは、申請書のコピーが適応判定委員に郵送され、多数決で適応あり、または適応なしに最終判定されてからその結果が申請医師に郵送される。いずれの段階の判定結果でも、申請医が判定に疑義をもった場合には、地区委員と相談のうえ、地区委員も同意見なら成長科学協会に異議申し立てを行える。異議申し立てがあれば、適応判定委員会の多数決で再度判定が行われ、その結果が申請医に報告される仕組みになっている。

申請医は適応判定を受けて治療を開始し、1年毎に治療成績報告書を提出し、治療継続適応があるかどうかについて専門医集団の second opinion を得て、治療をおこなえる。治療継続適応の判定基準は、治療中の成長率と骨年齢、および副作用による。当然、患者および保護者から中止希望が

あれば中止できる。

【治療システムの問題点】

成長科学協会で、治療適応者の人数は毎年登録されているが、その実数を表に示した。1989年には、GH Neurosecretory dysfunction が適応判定に取り入れられ、1991年には成長ホルモン刺激試験の頂値の評価が緩和されたため、登録患者数が増えている。最近は、毎年約3,000-4,000ずつ登録されていて、1992年末で19,444名に達している。しかし表に示すごとく、治療成績報告書の提出率が悪く、実際現在何名治療されているかの把握は、十分ではない。治療報告者数、継続適応者数などより推定最大治療者数、推定未報告者数を計算すると、1992年末でそれぞれ 14,354人、4,052人となっている。成長ホルモン治療は、その性格上10数年にもわたって長期間継続投与する薬剤であるにもかかわらず、長期にわたる有効性・安全性のデータは十分ではなく、提出率を上昇させることによって、患者数を把握するだけでなく、有効性・安全性のデータを得ることは、今後の成長ホルモン治療の評価に欠かせないことである。

また、成長ホルモン治療は、小児慢性特定疾患治療研究事業により経済的には患者さんには負担がかからないようになっているが、成長ホルモンの薬価が高く、長期の治療が必要なことより、地方自治体の財政を圧迫しつつある。一方成長ホルモン治療により、一部のゴナドトロピン分泌不全症を合併した症例では、完全に正常身長に達している例もあるが、これらの症例に対しても経済的補助を与えなければいけないかという問題もある。

【今後の方向性】

成長科学協会では、治療成績報告書の提出率をあげるために、平成5年1月の適応判定委員会で次のような改革案を討議し、合意をみた。すなわち、1993年2月1日より登録番号を1年毎に更新することにする。治療成績報告書が提出されない場合には登録を抹消する。登録番号の末尾4桁の数字を新規適応判定申請、あるいは治療成績報告により治療適応、あるいは治療継続適応ありと判定した際の申請、あるいは報告年月日の西暦年の末尾2桁の数字および月の2桁の数字とする。移行措置として、(1)治療報告を行うべきであるのに未提出の症例のすべての主治医に、未提出期

間の治療成績の一括報告を求め、(2)また1992年1月1日より1993年1月31日までの間に新規適応判定申請をされて適応ありと判定された症例、および同期間に治療成績報告書を送付する。

長期の有効性・安全性は、世界各国でも現在集めているところで、わが国でも成長科学協会を通じてこのようなデータを集積し解析していくことは、世界に大きな学問的貢献を果たすことになる。しかし、現在のコンピュータ・システムは、まだそれらの解析に十分対応できておらず、今後成長科学協会の登録システム検討小委員会、成長ホルモン治療研究委員会などで対応策を検討する予定となっている。

表. 下垂体性小人症の成長ホルモン治療適応判定 (成長科学協会)

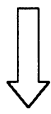
	年間新規登録者数	遅べ登録者数	治療成績報告者数	治療継続適応者数	治療中止者数		推定最大治療者数	推定未報告者数
					継続適応無し	希望無し		
1986	3545	3545					3545	
1987	1510	5055	3191	2787	175	229	4651	354
1988	1346	6401	3565	2945	145	475	5377	1086
1989	2273	8674	3773	3723	165	335	7150	1604
1990	3669	12343	3679	4684	231	752	9836	3471
1991	3918	16261	5667	5855	233	1048	12473	4169
1992	3183	19444	8421	7119	284	1018	14354	4052

(推定最大治療者数) = (前年度推定最大治療者数) + (年間新規登録者数) - (治療中止者数)

(推定未報告者数) = (前年度推定最大治療者数) - (治療成績報告者数)



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:現在下垂体性小人症の治療システムは、主治医は成長科学協会に治療適応申請を提出して、適応判定を受けて治療を開始し、1年毎に治療成績報告書を提出することになっている。成長科学協会における治療適応者の登録数は、1992年末で19,444名に達している。しかし、治療成績報告書の提出率が悪く、実際現在何名治療されているかの把握は、十分ではない。成長科学協会では、治療成績報告書の提出率を上げるために、1993年度より毎年登録番号を更新する改革をおこなった。