

## 日本小児科学会及び関係学会と連携した小児慢性疾患対策の検討

研究分担者 井田 博幸（東京慈恵会医科大学小児科学講座 教授）

### 研究要旨

小児慢性特定疾患治療研究事業の見直しに際して、日本小児科学会分科会のみならず子どもを診る可能性のある学会代表と本研究班が連携・協力して議論を行った。その結果、1. 対象疾患の見直し（既対象疾患の整理、疾患群分類の見直し、新規候補疾患の提示、分類法の整理）、2. 「疾病の状態の程度」案の提示、3. 客観的な診断基準案の提示、4. 医療意見書の作成、5. 審査・認定のサポートシステムの構築などの重要な成果が得られた。

以上の結果より、本連携システムは多くの、そして種々の課題に対して適切に対応することを可能にしたことで有意義であったと考えられる。

### A. 研究目的

小児慢性特定疾患治療研究事業の改正に際して、対象疾患・診断基準の再検討、意見書の見直し、審査認定システムの構築などについて議論する必要がある。そこで、日本小児科学会が中心となり、日本小児科学会分科会のみならず、子どもを診る可能性のある学会の代表を集め、小児慢性疾患委員会（以下「小慢委員会」を略す）を構築し、議論を行ったので、その成果を検証することを目的とする。

### B. 研究方法

本研究班の分担研究者であり、かつ小慢委員会の日本小児科学会主担当理事の立場から本研究班と委員会の連携の状況についてまとめる。そして、それらの連携のもと得られた成果について報告する。

（倫理面の配慮）

本研究は患者情報などを用いた研究ではないことから特別な倫理的配慮は行わなかった。

### C. 研究結果

#### 1. 対象疾患の見直し

##### 1) 既対象疾患の整理

①慢性に経過する。②生命を長期にわたって脅かす。③症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる。④長期にわたって高額な医療の負担が続くという4要件をもとに従来の対象疾患を整理した。かつ①小児期には発症しないと考えられるようになった疾患、②治療成績の向上などにより慢性の経過をほとんどとらなくなった疾患、③名称・概念が使われなくなった疾患などの医学的観点から従来の対象疾患を整理した。その結果、19疾患を既対象疾患から除外した。

## 2) 疾患群分類の見直し

小児慢性特定疾患 514 疾患は従来、11 疾患群に分類されていた。しかし、今回の検討で「血友病等血液・免疫疾患」を「血液疾患」と「免疫疾患」に分け、「先天代謝異常症」などに内包されていた皮膚疾患を「皮膚疾患」として独立させた。そして「染色体または遺伝子に変化を伴う症候」を追加した。この結果、11 疾患分類から 14 疾患分類となった。

## 3) 新規候補疾患の検討

(1)で記載した 4 要件を満たす疾患を検討し、研究班・小慢委員会で議論し、107 疾患を新規の対象疾患とした。この結果、対象疾患は従来の 11 症候群 514 疾患から 14 症候群 704 疾患に増加した。

## 4) 分類法の整理

対象疾患を大分類名・細分類名の構造で整理し細分類名を対象疾患とした。この結果、疾患群→大分類→細分類と辿ることにより、当該疾患が小児慢性特定疾患の対象であるかどうかを容易に知ることができるようになった。

## 2. 「疾病の状態の程度」案の作成

一部の対象疾患において「疾病の状態の程度」案を作成した。1 例として気管支喘息においては助成の対象となる気管支喘息の状態として「ア. 1 年以内に 3 回以上の大発作がある場合」の「大発作」を“歩行困難な著明な呼吸困難またはバルスオキシメーターによる酸素飽和度が 91%未満の状態”とした。

## 3. 客観的な診断基準案の作成

新しい制度で小児慢性特定疾病助成の対象疾患 714 疾患全てに対して診断基準案を作成した。例えば腎機能低下の定義を「おおむね 3 か月以上、血清クレアチンが年齢性別ごとの中央値の 1.5 倍以上が持続すること」とした。

## 4. 医療意見書の作成

旧制度では 1 疾患群について 1 様式の医療意見書であったが、新制度では各疾病に専用の医療意見書を作成した。

## 5. 審査認定システムのサポート

従来、都道府県の審査委員会で審査を行っていたが、委員は少件数から成り、かつ各疾患群の専門家ばかりではなく、審査の公正性という観点で問題があった。そこで日本小児科学会分科会の協力のもと中央コンサルテーションを構築した。

## D. 考察

今回の検討で本研究班のみならず、小児慢性特定医療疾病に関係する学会が連携したことにより、多くのそして種々の課題に対して対応できたことは有意義であったと考える。また、このような連携体制のもとで提出された上記の結果はその内容の質が高く妥当なものであったと考えている。今後はデータの登録システムの情報管理を適切に行い、小児慢性特定医療対象疾患の研究・診療に役立てることを推進していくことが重要であると考えられる。

## E. 研究発表

- 1) 井田博幸. 小児医療における小児慢性特定疾患対策治療研究事業の意義. 小児科. 56: 1977-1982, 2015.
- 2) 井田博幸. 小児慢性特定疾病児童成人移行期支援モデル事業—Transition 問題の解決を目指して—. 日医雑誌. 144: 1174-1176, 2015.

## F. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得/2. 実用新案登録/3.その他  
いずれもなし