

コラム
COLUMN

平成11年度小児慢性特定疾患治療研究事業の全登録人数

平成11年度小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）に関して、全国84カ所の実施主体である都道府県・指定都市・中核市から、厚生労働省にコンピュータソフトによる事業報告があった医療意見書延べ115,893人（成長ホルモン治療用意見書提出例12,637人は重複して算出）の内容を疾患群ごとに示す。

表1. 悪性新生物

（合計18,169人），（新規診断3,053人，継続14,746人，転入146人，無記入224人）
（男子9,935人，女子8,117人，無記入117人）（国の小慢事業18,167人，県単独事業2人）

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%
白血病(以下、再掲)	6,422	35.3	悪性リンパ腫(以下、再掲)	1333	7.3
急性リンパ性白血病	4,271	23.5	ホジキン病	137	0.8
急性骨髄性白血病	949	5.2	非ホジキンリンパ腫	110	0.6
慢性骨髄性白血病	172	0.9	パーキットリンパ腫	23	0.1
急性単球性白血病	61	0.3	網膜芽細胞腫	936	5.2
急性前骨髄球性白血病	32	0.2	悪性骨腫瘍(以下、再掲)	612	3.4
急性巨核芽球性白血病	25	0.1	骨肉腫	433	2.4
脳(脊髄)腫瘍(以下、再掲)	3,487	19.2	Ewing腫瘍	134	0.7
頭蓋咽頭腫	210	1.2	軟骨肉腫	19	0.1
神経膠腫	191	1.1	結合組織・軟部組織の悪性腫瘍(以下、再掲)	538	3.0
髄芽(細胞)腫	167	0.9	横紋筋肉腫	386	2.1
松果体腫	166	0.9	線維肉腫	55	0.3
脊髄腫瘍	133	0.7	滑膜肉腫	21	0.1
小脳腫瘍	133	0.7	Wilms腫瘍	521	2.9
奇形腫	93	0.5	肝芽(細胞)腫	299	1.6
神経芽細胞腫	77	0.4	卵巣悪性腫瘍(以下、再掲)	160	0.9
視神経膠腫	59	0.3	未分化胚細胞腫	50	0.3
脳室上衣腫	55	0.3	悪性組織球症	107	0.6
脳幹部腫瘍	48	0.3	甲状腺癌	91	0.5
クモ膜嚢腫	47	0.3	卵黄嚢腫	87	0.5
下垂体腺腫	31	0.2	嚢丸悪性腫瘍	84	0.5
小脳歯細胞腫	27	0.1	神経鞘腫	33	0.2
テント上腫瘍	22	0.1	腎細胞癌	24	0.1
神経膠芽細胞腫	22	0.1	悪性黒色腫	21	0.1
髄膜腫	22	0.1	悪性神経鞘腫	20	0.1
視床下部腫瘍	21	0.1	縦隔悪性腫瘍	20	0.1
神経芽細胞腫	2,457	13.5			

表2. 慢性腎疾患

（合計10,243人），（新規診断3,118人，継続6,939人，転入51人，無記入135人）
（男子5,782人，女子4,392人，無記入69人）（国の小慢事業7,854人，県単独事業2,389人）

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%
ネフローゼ症候群	3,168	30.9	先天性腎奇形(以下、再掲)	380	3.7
慢性腎炎症候群(以下、再掲)	2,672	26.1	腎低形成	106	1.0
慢性糸球体腎炎	2,550	24.9	尿路の奇形等	86	0.8
遷延性糸球体腎炎	90	0.9	多発性嚢胞腎	67	0.7
二次性腎炎(以下、再掲)	1,435	14.0	腎嚢胞	54	0.5
紫斑病性腎炎	854	8.3	慢性腎不全	159	1.6
IgA腎症	571	5.6	慢性増殖性糸球体腎炎	69	0.7
閉塞性腎症(以下、再掲)	1,096	10.7	遺伝性腎炎(以下、再掲)	58	0.6
水腎症	1,003	9.8	Alport症候群	16	0.2
巨大水尿管症	35	0.3	膜性腎症	51	0.5
慢性間質性腎炎	981	9.6	巣状分節性糸球体硬化症	41	0.4
			萎縮腎	34	0.3
			尿路結石症	33	0.3

表3. ぜんそく

（合計8,924人），（新規診断3,903人，継続4,864人，転入19人，無記入138人）
（男子5,364人，女子3,514人，無記入46人）（国の小慢事業6,943人，県単独事業1,981人）

疾患名	人数(人)	%
気管支喘息	8,849	99.2
気管支拡張症	71	0.8

表4. 慢性心疾患 (合計11,717人), (新規診断4,662人, 継続6,803人, 転入46人, 無記入206人)
(男子6,293人, 女子5,352人, 無記入72人)(国の小慢事業8,317人, 県単独事業3,400人)

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%		
心筋症	心筋症(以下, 再掲)	151	1.3	先天性心疾患等	大動脈弁上狭窄症	21	0.2
	(特発性)肥大型心筋症	83	0.7		単心室	158	1.3
	心内臓線維性症	18	0.2		僧帽弁閉鎖不全症	154	1.3
調律異常	心室性期外収縮	185	1.6		大動脈縮窄症	148	1.3
	上室性頻拍(以下, 再掲)	116	1.0		肺動脈閉鎖症	143	1.2
	発作性上室性頻拍	74	0.6		総肺静脈還流異常症	113	1.0
	WPW症候群	110	0.9		三尖弁閉鎖症	110	0.9
	房室ブロック(以下, 再掲)	95	0.8		エプスタイン奇形	59	0.5
	完全房室ブロック	49	0.5		大動脈弁閉鎖不全症	55	0.5
	心室性頻拍	69	0.6		肺動脈弁閉鎖症	51	0.4
先天性心疾患等	完全心ブロック(以下, 再掲)	53	0.5		修正大血管転位症	49	0.4
	QT延長症候群	50	0.4		大動脈弓閉鎖	36	0.3
	心室中隔欠損症	2,385	20.4		右胸心	29	0.2
	心房中隔欠損症	914	7.8		三尖弁閉鎖不全	29	0.2
	Fallot四徴症	734	6.3		左心低形成症候群	27	0.2
	肺動脈狭窄症(以下, 再掲)	493	4.2		総動脈幹遺残症	21	0.2
	肺動脈弁狭窄症	297	2.5	僧帽弁狭窄症	21	0.2	
	動脈管開存症	326	2.8	単心房	20	0.2	
	心内臓床欠損(以下, 再掲)	262	2.2	その他	川崎病	1986	16.9
	完全型心内臓床欠損	76	0.6		冠動脈瘤	644	5.5
完全大血管転位症	243	2.1	冠動脈拡張症		357	3.0	
両大血管右室起始症	204	1.7	慢性心筋炎		207	1.8	
冠動脈異常	191	1.6	慢性肺性心		87	0.7	
冠動脈ろう	106	0.9	小児原発性肺高血圧症		52	0.4	
大動脈狭窄症(以下, 再掲)	188	1.6	無脾症		37	0.3	
大動脈弁狭窄症	106	0.9	先天性心臓欠損症		29	0.2	
			心臓腫瘍		27	0.2	

表5. 内分泌疾患 (合計29,178人), (新規診断5,195人, 継続23,471人, 転入252人, 無記入260人)
(男子13,504人, 女子15,472人, 無記入202人)(国の小慢事業29,111人, 県単独事業67人)

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%
成長ホルモン分泌不全性低身長症	12,469	42.7	(特発性)思春期遅発症	70	0.2
甲状腺機能低下症(以下, 再掲)	4,873	16.7	腎血管性高血圧	63	0.2
クレチン症	3,486	11.9	腺腫様甲状腺腫	58	0.2
甲状腺機能亢進症	3,112	10.7	卵巣腫瘍	58	0.2
思春期早発症	2,158	7.4	ヌーナン症候群	54	0.1
先天性副腎過形成(以下, 再掲)	1,009	3.5	ゴナドトロピン欠乏症	48	0.2
21水酸化酵素欠損症	50	0.2	アジソン病	44	0.2
先天性副腎リポイド過形成	30	0.1	半陰陽	40	0.1
慢性甲状腺炎	968	3.3	インスリン分泌異常	39	0.1
ターナー症候群	855	2.9	クラインフェルター症候群	37	0.1
下垂体性尿崩症	338	1.2	副腎形成不全	36	0.1
プラダー・ウィリ症候群	324	1.1	嚙丸形成不全	36	0.1
下垂体機能低下症	321	1.1	仮性思春期早発症	34	0.1
単純甲状腺腫	197	0.7	高インスリン血症	33	0.1
特発性副甲状腺機能低下症	191	0.7	嚙丸腫瘍	32	0.1
原発性性腺機能低下症(男)	168	0.6	甲状腺刺激ホルモン欠乏症	31	0.1
周期性ACTH症候群	156	0.5	副腎腫瘍	31	0.1
甲状腺腫	149	0.5	褐色細胞腫	23	0.1
副腎性器症候群	139	0.5	下垂体性巨人症	30	0.1
腎性尿崩症	118	0.4	抗利尿ホルモン分泌異常症候群	30	0.1
仮性副甲状腺機能低下症	110	0.4	男性仮性半陰陽	30	0.1
原発性性腺機能低下症(女)	92	0.3	アンドロゲン不応症	23	0.1
特発性低血糖症	91	0.3	プロラクチン欠乏症	22	0.1
パーター症候群	78	0.3	特発性副甲状腺機能亢進症	21	0.1

表6. 膠原病 (合計3,626人)
(新規診断1,490人, 継続2,081人, 転入23人, 無記入32人)
(男子1,623人, 女子1,971人, 無記入32人)
(国の小慢事業3,597人, 県単独事業29人)

疾患名	人数(人)	%
若年性関節リウマチ	2,051	56.6
川崎病	1,428	39.4
リウマチ熱	70	1.9
シェーグレン症候群	30	0.8
スチーブンス・ジョンソン症候群	19	0.5

表7. 糖尿病 (合計4,929人)
(新規診断1,042人, 継続3,777人, 転入38人, 無記入72人)
(男子2,140人, 女子2,743人, 無記入46人)
(国の小慢事業4,905人, 県単独事業24人)

疾患名	人数(人)	%
1型糖尿病	3,603	73.1
2型糖尿病	875	17.8

表8. 先天性代謝異常 (合計6,373人), (新規診断1,125人, 継続5,142人, 転入34人, 無記入72人)
(男子3,042人, 女子3,279人, 無記入52人) (国の小慢事業6,359人, 県単独事業14人)

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%
先天性胆道閉鎖症	1,674	26.3	家族性低燐酸血症	121	1.9
総胆管拡張症	649	10.2	ビタミンD抵抗性くる病	99	1.6
軟骨異栄養症(軟骨無形成症)	642	10.1	腎尿管管性アシドーシス	97	1.5
高コレステロール血症(以下, 再掲)	372	5.8	スフィンゴリピドーシス(以下, 再掲)	86	1.3
家族性高コレステロール血症	350	5.5	Gaucher病	30	0.5
高リポ蛋白血症Ⅰ型	20	0.3	銅銅アミノ酸代謝異常(以下, 再掲)	80	1.3
骨形成不全症	278	4.4	メチルマロン酸血症	48	0.8
糖尿病(以下, 再掲)	239	3.8	プロピオン酸血症	22	0.3
糖尿病Ⅰ型	39	0.6	色素性乾皮症	71	1.1
糖尿病Ⅶ, X型	24	0.4	乳糖不耐症	60	0.9
糖尿病Ⅲ型	22	0.3	家族性高リポ蛋白血症	42	0.7
ウィルソン病	231	3.6	副腎白質ストロフィー	39	0.6
フェニルケトン尿症	219	3.4	ホモシチン尿症	38	0.6
ガラクトース血症	168	2.6	先天性高脂質血症	36	0.6
アミノ酸転送異常(以下, 再掲)	163	2.6	エーラース・ダンロス症候群	32	0.5
シスチン尿症	84	1.3	高フェニルアラニン血症	31	0.5
眼脳腎症候群	43	0.7	総胆管嚢腫	31	0.5
ファンコニ症候群	22	0.3	膵膵尿症	28	0.4
ムコ多糖症(以下, 再掲)	139	2.2	cystic fibrosis	26	0.4
Hunter症候群	56	0.9	高リポ蛋白血症Ⅳ型	25	0.4
尿素サイクル代謝異常(以下, 再掲)	134	2.1	白皮症	23	0.4
高アンモニア血症	60	0.9	乳糖分解酵素欠損症	23	0.4
オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	46	0.7	腎性糖尿	22	0.3
			ビルビン酸カルボキシラーゼ欠損症	20	0.3

表9. 血友病等血液疾患 (合計9,035人), (新規診断2,067人, 継続6,806人, 転入70人, 無記入92人)
(男子5,291人, 女子3,679人, 無記入65人) (国の小慢事業9,033人, 県単独事業2人)

疾患名	人数(人)	%	疾患名	人数(人)	%
血管性紫斑病	3,045	33.7	低ガンマグロブリン血症	75	0.8
血友病A	1,276	14.1	サラセミア	55	0.6
遺伝性球状赤血球症	753	8.3	脾機能亢進性血小板減少症	54	0.6
ヒストサイトーシスX(以下, 再掲)	436	4.8	周期性好中球減少症	53	0.6
レットレル・シーベ病	136	1.5	好酸球増加症	46	0.5
無顆粒球症	392	4.3	IgA(単独)欠損症	37	0.4
伝染性単核症	375	4.2	Banti症候群	34	0.4
溶血性尿毒症症候群	329	3.6	慢性肉芽腫症	33	0.4
フォン・ウィレブランド病	254	2.8	免疫グロブリン欠損症	32	0.4
血友病B	235	2.6	第XⅡ因子欠乏症	31	0.3
免疫学的血小板減少症	247	2.7	血性性血小板減少性紫斑病	30	0.3
血小板減少性紫斑病	126	1.4	ヘモジテロシス	29	0.3
血小板機能異常症	113	1.3	原発性免疫不全症	24	0.3
赤芽球病	110	1.2	グルコース-6-リン酸脱水素酵素欠乏性貧血	23	0.3
自己免疫性溶血性貧血	99	1.1	第Ⅴ因子欠乏症	21	0.2
遺伝性非球状性溶血性貧血	98	1.1	血小板病	20	0.2
Kasabach-Merritt症候群	93	1.0	先天性赤血球産生異常性貧血	20	0.2

表10. 神経・筋疾患 (合計1,062人)
(新規診断420人, 継続600人, 転入14人, 無記入28人)
(男子611人, 女子445人, 無記入6人)
(国の小慢事業937人, 県単独事業125人)

疾患名	人数(人)	%
点頭てんかん	718	67.6
先天性筋疾患(以下, 再掲)	120	11.3
先天性遺伝性筋ジストロフィー	99	9.3
結節性硬化症	96	9.0
ミトコンドリア筋病	76	7.2
亜急性硬化性全脳炎	30	2.8

表11. 成長ホルモン治療用意見書

①初回申請: 2,309人
(男子1,323人, 女子972人, 無記入14人)

疾患名	人数(人)	%
成長ホルモン分泌不全性低身長症	1,995	86.4
ターナー症候群	137	5.9
軟骨異栄養症(軟骨無形成症)	70	3.0
慢性腎不全	20	0.9
その他の慢性腎疾患	14	0.6
その他	73	3.2

②継続申請: 10,328人
(男子6,695人, 女子3,553人, 無記入80人)

疾患名	人数(人)	%
成長ホルモン分泌不全性低身長症	9,508	92.1
ターナー症候群	401	3.9
軟骨異栄養症(軟骨無形成症)	225	2.2
慢性腎不全	21	0.2
その他の慢性腎疾患	11	0.1
その他	162	1.6

資料: 主任研究者 加藤定明「平成13年度厚生科学研究 小児慢性特定疾患治療研究事業の登録・管理・評価に関する研究報告書」2002