

[個別研究]

# 今後の小児慢性特定疾患治療研究事業のあり方 — 第1報 保健・医療的視点から —

母子保健研究部 加藤 忠明、 斉藤 進  
嘱託研究員 伊藤嘉余子（日本社会事業大学大学院）  
厚生労働省母子保健課 宮本 哲也、 桑島 昭文、 森本 哲也

要約：今後の小児慢性特定疾患治療研究事業への提言に関して、第1報では保健・医療的視点から、また、第2報では福祉・教育的視点から考察した。今後の基本的方針としては、「医療」支援、「治療研究」への配慮、「福祉、教育」的支援の3本柱となることが望まれる。疾病の罹患による苦しみや悩みは、その時の症状や治療による日常生活の制限だけでなく、生命の危険や病状の悪化によるQOL低下等、将来の見通しにも大きく関連している。したがって、今後の小慢事業では、①病状の経過、生命に対する危険、及び生活の質に与える影響等を参考に対象疾患を選定し、②患児の医療費助成の申請時及び更新時の症状と、疾患に罹患した状態が継続することによる将来の病状変化に関する見通しを合わせて評価し、対象者を決めることが適切である。

見出し語：小児慢性特定疾患治療研究事業、難病、子どもの難治性疾患、慢性疾患の疫学、医療費助成

## A Study on the Future Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories (The first report mainly on Medical Care & Health)

Tadaaki KATO, Susumu SAITO, Kayoko ITO, Tetsuya MIYAMOTO, Akifumi KUWASHIMA, and Tetsuya MORIMOTO

Summary: The future Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories was considered in the first report from the point of medical care & health, and in the second from the education & welfare. It is hoped to be based not only on the medical aid and research, but also on the welfare aid etc. The object diseases should be selected appropriately considering the course of symptom, the fatal risk, and the influence to quality of life. The patient must be registered not only from the point of present status, but also from the point of future progress of the disease.

Key Words: Medical Aid Program for Chronic Pediatric Diseases of Specified Categories,  
Intractable Diseases of Children, Epidemiology of Chronic Diseases, Medical Aid Program

## I 目的

小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）は、医療意見書を申請書に添付させ、診断基準を明確にして小児慢性特定疾患（以下、小慢疾患）対象者を選定する方式に、平成10年度以降全国的に統一されている。そこで、全国的な10～12年度小慢事業に関して、厚生科学研究の中で疫学的、及び縦断的解析が行われている<sup>1)</sup>。しかし、厚生労働省の通知に基づく省令補助金事業であるため<sup>2)</sup>、このままでは予算が毎年10%づつ削減され、その存続が危ぶまれている。そこで、厚生労働省は法制化、または何らかの制度化を検討している<sup>3)</sup>。

今回の研究報告では、今後の小慢事業への提言に関して、第1報で保健・医療的視点から、また、第2報で福祉・教育的視点から考察した。

## II 対象と方法

厚生労働省のホームページに載っている「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会、第1～7回議事録・資料」<sup>3)</sup>の内容と共に、多くの専門医の意見を取りまとめ、考察した。

## III 結果と考察

### 1、基本の方針

今後の小慢事業の基本の方針としては、「医療」支援、「治療研究」への配慮、「福祉、教育」的支援の3本柱となることが望まれる。

#### ①「医療」支援

昭和43年の「先天性代謝異常児の医療給付について」、46年の「小児ガン治療研究事業について」、47年の「児童の慢性腎炎・ネフローゼ及びぜんそくの治療研究事業について」などが、49年に「小児慢性特定疾患治療研究事業」としてまとめられた<sup>2)</sup>。そして、平成2年に「神経・筋疾患」が追加されるなど、その後多くの追加・修正を重ねながら、健康保険等社会保険の給付（療養の給付）の患者自己負担分が公費

負担されている。

治療が長期間にわたり、医療費の負担が高額となる小児の特定疾患に対する医療費助成制度であり、患者家庭の医療費の負担軽減を図ることにより、医療の確立と普及を目指している。医療費の助成が小慢事業の根幹であることを継続する希望は、患者団体のヒヤリングでも特に多かった<sup>3)</sup>。この方針は今後も堅持しなければならない。

#### ②「治療研究」への配慮

高額な医療費の助成が小慢事業で行われることにより、対象患児のすべてが必要な治療を受けられるようになる。そのこと自身が対象疾患の治療成績向上に貢献している。各種の研究は、小慢事業とは別の厚生労働科学研究費等によっても行われているので、医療費助成そのものが間接的に治療研究に貢献していると考えられる。

さらに平成10年度以降、申請書に医療意見書を添付させ、診断基準を明確にして登録する様式に全国統一されている。そのことにより、小慢疾患の全国的な疫学調査となる貴重な資料が得られた。また、10～12年度小慢事業で経過観察された資料からは、縦断的解析も行われた<sup>1)</sup>。資料の活用に関しては、患児から同意を得た上でプライバシー保護が守れる場合は、患者団体からも肯定的な意見が多かった<sup>3)</sup>。

小慢事業が間接的、また直接的に小慢疾患の研究に資することにより、患児の効果的療育支援、治療、QOL向上、また経過判定等に役立つことが期待される。今後とも十分なプライバシー保護のもとに治療研究できる体制作りが望まれる。

#### ③「福祉、教育」的支援

「第2報 福祉・教育的視点から」参照

### 2、他の施策との関連

小慢事業と関連した複数の施策で、同一の患児が対象となり得る場合に関して、望ましい考え方や今後の対応を以下に述べる。

#### ①身体障害者施策

育成医療、補装具の交付等の身体障害者施策では、患児の現時点での日常生活がどの程度できるかに着目しており、疾病の罹患によって生じた障害も含まれる。この

障害を抱える人が必要なサービスは、ショートステイ事業を医療機関で実施できる等、医学的ケアの要望に応じる方向性が示されている。また、身体障害者1級など、障害の程度の高い者については、自治体の福祉医療制度によって対応されている。他に特別児童扶養手当の給付等もある。課題は残されているものの、障害の程度が高いものについては、医療、サービス、経済支援等が行われている。

したがって、小慢事業では、障害を負うには至らないまでも、疾病に悩み苦しむ者を主な対象にするべきである。

## ②乳幼児医療費助成制度

市区町村事業である乳幼児医療費助成制度（以下、乳幼児助成）は、対象者の年齢、また入通院の別、さらに所得制限等が市区町村によって大きく異なっている。少子化対策等により、その助成範囲は毎年少しずつ広がっており、平成13年の対象者は、3歳未満児は入院ほぼ100%、通院約95%、6歳未満児は入院約60%、通院約30%であった。

従来の小慢事業では、患者家族の自己負担がなく、市町村の予算を使用しない。また、国として患児を把握することにより治療研究できるので、小慢事業対象者は、乳幼児助成ではなく、小慢事業での登録を勧めていた。

しかし、今後の小慢事業では、育成医療や特定疾患治療研究事業（以下、特疾事業）等、他の医療費助成制度と歩調を合わせるため、患者家族にとっては一部自己負担になる可能性が高い。その場合、低年齢児では可能な範囲で乳幼児助成を利用し、その後、小慢事業を利用する患児が増えると予想される。

その結果として、従来の小慢事業利用者が減少する分の予算は、通院をすべての小慢疾患で対象としたり、小慢対象疾患を増やしたり、従来とは別の患児に予算を配分することが可能になる。しかし、市町村予算の負担増への心配があり、また追加配分可能な予算は限られているので、あまり多くは期待できない。

また、従来の小慢事業利用者が減少することは、疫学的な資料としての価値が減少することも意味している。その防止のためには、乳幼児助成利用者を保健所

が把握して国に報告するシステムを新設する等、今後の小慢事業が疫学調査としても価値を減少させないよう配慮しなければならない。

## ③特定疾患治療研究事業

小児のみでなく成人も医療費助成の対象とする特疾事業疾患は、年毎にその対象疾患が増えている。同じ疾患は、どちらか一方の事業で登録する方が疫学調査上は利点が多い。特疾事業疾患の方が患者にとっては成人後も対象となるので、可能な場合は、小慢事業より特疾事業での登録が望まれる。

## 3、対象疾患と対象者

現在の小慢事業の対象疾患には一部、急性疾患が含まれていたり、逆に重症な難治性疾患が対象外となっている。また、同じ疾患でも重症度が異なる場合は多い。そして、医療の進歩等により、必ずしも難病とはいえなくなった疾患が一部存在したり、入院治療より通院治療によるQOL向上に重点が置かれるようになった疾患は多い。したがって、医療費助成制度として公平性を保つために、今後は対象疾患と対象者を見直し、また入通院の区別なく、そして対象年齢も同一基準で助成することが望まれる。

疾病の罹患による苦しみや悩みは、その時の症状や治療による日常生活の制限だけでなく、生命の危険や病状の悪化によるQOL低下等、将来の見通しにも大きく関連している。したがって、今後の小慢事業では、①病状の経過、生命に対する危険、及び生活の質に与える影響等を参考に対象疾患を選定し、②患児の医療費助成の申請時及び更新時の症状と、疾患に罹患した状態が継続することによる将来の病状変化に関する見通しを合わせて評価し、対象者を決めることが適切である<sup>3)</sup>。

悪性新生物や先天性心奇形等は、手術後も再発、合併症など、死に直結する不安を抱える家族は多い。それらの早期発見や精神的ケアが大切である。また、新生児マススクリーニング疾患など治療を中断すれば、日常生活動作が著しく障害される場合がある。悪性新生物や先天性代謝異常、腎生検後の組織学的疾患名での登録等は、疫学的に貴重な資料が得られる。そこで、

以下の内容を参考にして対象の可否を判定することが適切であると考えられる。

#### ①対象疾患とする参考事項

今後の対象疾患を考慮する場合は、以下の疾患であるか等を参考にしたい<sup>3)</sup>。

ア、慢性に経過する疾患

イ、生命を長期にわたって脅かす疾患

ウ、症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾患

エ、高額な医療費の負担が長期に続く疾患

#### ②対象者とする参考事項

現在の病状：申請時の病状として、以下の症状や治療等を参考にしたい<sup>3)</sup>。

ア、繰り返す重篤な発作（入院治療を要するけいれん、意識障害、ショック、呼吸困難、循環不全、溶血発作など）、感染症、出血、骨折

イ、日常生活動作の著しい制限

ウ、長期の入院または在宅医療

エ、透析、人工呼吸管理、人工肛門など、生活に制限を受ける状態・治療

オ、副反応の強い薬の投与など、リスクの大きい治療

将来の病状：将来、病状が悪化する可能性が高い病態として以下、例示する内容等を参考にしたい<sup>3)</sup>。

ア、先天性心疾患術後の合併症、残遺症、続発症があり、死に直結する可能性のある病態

イ、組織診断によって、将来、病状が悪化する可能性が高いと診断され、薬物療法が行われている腎疾患

ウ、病理組織診断が行われた悪性新生物

エ、補充療法を必要とするホルモン欠損症および酵素欠損症

オ、サリチル酸製剤等の服用を必要とする冠動脈疾患  
カ、免疫抑制剤等の服用を必要とする膠原病

キ、特殊な食事療法を必要とするアミノ酸代謝異常症

#### ③対象外とする参考事項

以下の内容等を参考にしたい。

ア、経過が急性であるもの

イ、症状が軽微であるもの

ウ、手術等により速やかに症状の軽快または治癒が見込めるもの

エ、より詳細な分類による疾患名をつけることが適切であるもの

オ、分類の変更等により、現在使われない疾患概念  
カ、小児には見られない疾患

謝辞：専門医としての貴重なご意見は、母子保健研究部高野陽部長、国立成育医療センター柳澤正義院長、山梨医科大学中澤眞平教授、新潟大学内山聖教授、東京大学五十嵐隆教授、群馬大学森川昭廣教授、国立成育医療センター石澤瞭第一専門診療部長、旭川医科大学藤枝憲二教授、伊藤善也講師、虎の門病院横谷進部長、神奈川県立こども医療センター立花克彦科長、横浜市立大学横田俊平教授、北里大学松浦信夫教授、徳島大学黒田泰弘教授、女子栄養大学青木菊麿教授、杏林大学別所文雄教授、東北大学飯沼一字教授、東邦大学多田裕教授、聖路加看護大学白木和夫教授、昭和大学小林昭夫教授、筑波大学宮本信也教授を始めとする多くの先生方からいただきましたので、深謝申し上げます。

#### 参考資料

- 1) 主任研究者「加藤忠明」：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」。2002。
- 2) 厚生省児童家庭局母子保健課監修：小児慢性特定疾患早見表、平成10年度版。社会保険研究所、1998。
- 3) 厚生労働省雇用均等・児童家庭局：小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会、第1～7回議事録・資料。<http://www.mhlw.go.jp/shingi/other.html#koyou>、厚生労働省ホームページ、2002。