

平成 18 年度厚生労働科学研究費補助金（子ども家庭総合研究事業）

「小児慢性特定疾患治療研究事業の登録・管理・評価・情報提供に関する研究（加藤忠明主任研究者）」

## 血友病等血液・免疫疾患患者のキャリアオーバー後の治療に対する 公的支援制度に関する検討

研究分担者 信州大学医学部小児医学講座 小池健一

### 【目的】

小児慢性特定疾患治療研究事業（小慢）は、児童の慢性疾患のうち特定の疾患について、その治療にかかった費用の一部を公費により助成する制度である。一方、特定疾患治療研究事業は、原因が不明で治療方法が確立しておらず、かつ、生活面への長期にわたる支障がある特定の疾患について、原因の究明、治療法の確立に向けた研究を行うとともに、医療費の自己負担分を公費負担することにより、患者及び家族の負担を軽減する制度として運用されている。

病態解明の進歩、新たな診断法や治療法の開発、支持療法の進歩などにより血友病等血液疾患患者の生存率は向上し、小慢事業の対象患者が成人となっている患者も少なくない。これらの中で、高度貧血、出血傾向、易感染性など疾患特有の症状が持続する場合は、成人期に達した後も引き続き医療機関における長期の診療などを必要としている。小慢の適応は 20 歳に達すると切れることから、小慢に記載されている本来の疾患名でなく各都道府県の特定疾患研究事業等に概当する疾患名で小慢に登録されている症例もあるかと思われる。このため、小慢の治療研究事業からは正確な情報を得ることができないことが危惧される。そこで、本研究では大学病院などの 5 施設にアンケート用紙を送付し、キャリアオーバーした症例の中で治療を要する患者の背景（治療を要する血友病等血液・免疫疾患患者の頻度と種類、治療の内容、担当診療科）とキャリアオーバー後の公的支援制度の活用状況（公的支援制度により自己負担の軽減が継続できているのか？継続できない疾患があるのか？）について調査した。

### 【結果】

1) キャリアオーバー後も治療やリハビリテーションの継続が必要な患者数（年齢別、担当診療科別）

| 年代別   | 総患者数 | 担当診療科（科名と人数） |     |           |
|-------|------|--------------|-----|-----------|
|       |      | 小児科          | 内科  | その他の科（科名） |
| 20 歳代 | 17 名 | 16 名         | 1 名 | 0 名       |
| 30 歳代 | 5 名  | 5 名          | 0 名 | 0 名       |
| 40 歳代 | 3 名  | 3 名          | 0 名 | 0 名       |
| 50 歳代 | 0 名  | 0 名          | 0 名 | 0 名       |
| 計     | 25 名 | 24 名         | 1 名 | 0 名       |

2) 上記患者の公的支援制度事業等への申請状況について

| 小慢申請病名                   | 治療               | キャリアオーバー後の公的支援制度名 | 疾患群名                           | 件数 |
|--------------------------|------------------|-------------------|--------------------------------|----|
| 遺伝性好中球減少症                | G-CSF、抗生物質       | 特定疾患研究事業          | 原発性免疫不全症候群<br>(先天性好中球減少症として認定) | 2  |
| 選択的免疫グロブリン欠損症            | 免疫グロブリン補充、ST合剤など | 特定疾患研究事業          | 原発性免疫不全症候群<br>(体液性免疫不全を主とする疾患) | 2  |
| 複合型免疫不全症                 | 免疫グロブリン補充        | 特定疾患研究事業          | 原発性免疫不全症候群                     | 3  |
| 慢性肉芽腫症<br>(二次性顆粒欠損症)     | 手術、抗真菌薬、ST合剤など   | 特定疾患研究事業          | 原発性免疫不全症候群<br>(原発性食細胞機能不全症)    | 2  |
| 自己免疫性溶血性貧血               | 副腎皮質ホルモンなど       | (特定疾患研究事業)        | (溶血性貧血)                        | 1  |
| (-)                      | 輸血、タンパク同化ホルモンなど  | 特定疾患研究事業          | 再生不良性貧血                        | 2  |
| 血友病 A、B、von Willebrand 病 | 凝固因子製剤           | 特定疾患研究事業          | 先天性血液凝固因子障害                    | 12 |

合計 24 件

2. キャリーオーバー後に公的支援制度が適用できなかった疾患

| 小慢申請病名      | 治療                           | キャリアオーバー後の公的支援制度 | 件数 |
|-------------|------------------------------|------------------|----|
| ベルナル・スリエ症候群 | 血小板輸血、LH-RH 誘導体(大量の性器出血に対して) | なし               | 1  |

合計 1 件

### 3.小児慢性特定疾患治療研究事業と特定疾患研究事業における血液・免疫疾患の比較登録

| 病名                     | 小児慢性特定疾患治療研究事業登録 | 特定疾患研究事業登録          |
|------------------------|------------------|---------------------|
| ベルナール・スリエ症候群           | (+)              | (-)                 |
| 血友病                    | (+)              | (+)                 |
| 再生不良性貧血                | (-)              | (+)                 |
| 遺伝性好中球減少症              | (+)              | (+)<br>(原発性免疫不全症候群) |
| 選択的免疫グロブリン欠損症、複合型免疫不全症 | (+)              | (+)                 |
| 慢性肉芽腫症                 | (+)              | (+)                 |

#### 【結論】

血友病等血液・免疫疾患患者のキャリアオーバー後について

- 1) 治療を要する患者の頻度は低率であった。この中で、血友病が最も高頻度であった。
- 2) 治療を行っている診療科のほとんどは小児科であった。
- 3) 治療を要する患者の多くは特定疾患研究事業により自己負担の軽減が継続できていた。
- 4) ベルナール・スリエ症候群や血小板無力症（第 VII 因子補充療法）などの血小板関連の出血性疾患はキャリアオーバー後、公的支援制度の対象疾患に含まれていない点や、キャリアオーバー後の原発性免疫不全症候群に対する造血幹細胞移植などが、今後の課題としてあげられた。