



# 小児慢性特定疾患治療研究事業と その制度改革

加藤 忠明\*

## 要 旨

1974年に整備された小児慢性特定疾患治療研究事業は、当初は医療費助成が主であったが、1998年度にその登録様式が全国的に統一され、医療意見書の内容をプライバシー保護に十分配慮しながら、コンピュータ入力・集計して全国的に登録・管理する方式になった。さらに2005年度以降は、児童福祉法第21条の9の2に基づき、慢性疾患に罹っていることにより長期にわたり療養を必要とする児童などの健全な育成を図るため、当該疾患の治療方法に関する研究などに資する医療の給付その他の事業を行うこととなった。対象患者は、公平性を保つため、一定の対象基準を満たした場合、入院とも、また継続申請は20歳未満まで対象とした。併せて福祉サービスの充実を図った。

## I. 小児慢性特定疾患治療研究事業の経過

### 1. 設立当初

小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）は、小児慢性疾患のうち特定の疾患について、研究を推進し、その医療の確立と普及を図り、併せて患者家族の医療費の負担を軽減する事業であり、1974年に整備された<sup>1)</sup>。それ以前から実施されていた事業、すなわち1968年の「先天性代謝異常児の医療給付について」、1971年の「小児ガン治療研究事業について」、1972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」を統合、さらに他の対象疾患を拡大するとともに9つの疾患群にま

とめられ整備された。

1974年以降も対象疾患の追加、一部の疾患では入院から通院への拡大、対象年齢の18歳未満から20歳未満への延長が行われた。そして、1990年には神経・筋疾患が対象疾患群として追加され、10疾患群となった。しかし、その間、実質的には医療費助成のみで、研究の推進は必ずしも図られなかった。

### 2. 全国的な登録開始

小慢事業での医療費助成は、1995年度より患児（保護者）の申請で、保健所を窓口として行われることとなった。そして、1998年度にその登録様式が全国的に統一された。すなわち、申請書に添付される医療意見書は、全国的にほぼ同様の書式となり、その内容をプライバシー保護に十分配慮しながら、コンピュータ入力・集

\* Tadaaki KATO 国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部

[連絡先] ☎ 157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1 国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部

計して登録・管理する方式になった<sup>2)</sup>。そのコンピュータ入力・集計するソフトを、厚生省(当時)は全国の実施主体(都道府県, 指定都市, 中核市)へ1999年2月に配布した<sup>3)</sup>。

その後, そのソフトは2回ほど改良され, 2003年6月全国配布版では, 対象疾患のみ入力可能とし, 本来ありえない内容を入力すると警告表示を出し, 医療機関名も入力できるソフトにした<sup>4)</sup>。

### 3. 法制化

小慢事業の設立当初に比べ現在では, 医療技術の向上に伴って, 患者の生命の危機は防ぎやすくなった反面, その療養が長期化し, 長期間, 病氣と闘っている子どもとその家族の心身面の負担は増してきた。

また, 従来は厚生事務次官通知に基づく補助金事業であったため, 安定的な制度とすることが望まれていた。このような小慢事業を取り巻く状況を踏まえ, 小慢事業を法律上位置付ける「児童福祉法」一部改正案が国会で2004年11月26日に成立, 同年12月3日に公布され, 厚生労働大臣告示が2005年2月10日の官報に載り, 同年4月1日から実施された。

---

## II. 小児慢性特定疾患治療研究事業の見直しの経緯

---

小慢事業の法制化に伴う対象疾患および認定基準案の策定にあたって, 厚生労働省は以下のような検討会および研究班などを開催した。

### 1. 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<sup>5)</sup>

2001年9月から2002年6月まで10回にわたり, 小慢事業について今日的視点で見直しを行うため, 「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」が開催された。小児科医のほか, 日本医師会, 保健・看護, 教育, 親の会, マスコミ, 地方行政の代表者が

参加して, 公開の場で議論が行われ, その一人ひとりの発言内容は厚生労働省のホームページに載った。

### 2. 小児慢性特定疾患についての有識者による意見交換会

上記1の検討会に参加した医師メンバーから構成される「小児慢性特定疾患についての有識者による意見交換会」において, 厚生労働省の担当者と適宜, 意見交換を行った。このなかで, 新たな小慢事業における対象疾患および対象基準策定に関して, 具体的また詳細な議論を行った。

### 3. 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班<sup>6)</sup>

厚生労働科学研究(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」において調査・解析を行った患者の全国登録状況や医療意見書記載データなどをもとに, 疾患の認定基準および重症者基準の原案などに関して検討した。この研究班には, 小児医療各分野の専門家が参加していることから, 研究の実施と平行して各疾病分野の専門家にご意見をいただき, 対象疾患の精査を行った。

### 4. 「難病の子ども全国支援ネットワーク」参加患者・家族団体

「難病の子ども全国支援ネットワーク」に参加・協力する患者・家族団体からは, 上記1の場でご意見をいただいた。そして, 2002年7月より厚生労働省は, 各団体に対し適宜, 対象疾患や対象基準などに関する説明を行う機会を設けた。その他, 適宜, 個別の団体からの陳情などにも対応した。

---

## III. 小児慢性特定疾患治療研究事業の見直しの基本的考え方

---

上記の経緯により, 小慢事業の見直しに関す

る基本的考え方は以下の通りとなった。

① 従来の小慢事業の対象疾患を基本として、今日の医学的知見に基づき、必要最小限の見直しを行う。

② 対象疾患については、事業の趣旨に鑑みて、慢性疾患であることを前提として、症状の重さ、治療にかかる費用ならびに他の公費負担医療の適応状況などを考慮し、予算の範囲内で対象疾患の見直しを行う。

③ 基本的に ICD 10 (悪性新生物のみ ICD-O) コードで使用されている疾患名を使用し、現在は使用されていない疾患名や不正確な不適切病名を整理するとともに、対象疾患を適切な疾患群に分類して、医学的に整合性を図る。

④ 対象疾患ごとに認定基準を厚生労働大臣告示で示す。

#### IV. 新たな小児慢性特定疾患対策の確立

次世代育成支援の観点から子育てしやすい環境の整備を図るため、小慢事業を見直すとともに、小児慢性特定疾患(以下、小慢疾患)のある患者に対する安定的な制度として改善・重点化を行った。対象患者は、公平性を保つため一定の対象基準を満たした患者について、入通院とも対象とした。併せて福祉サービスの充実を図った。これらに伴って国庫負担額は、2004年度の96.5億円から2005年度は128.2億円に増加した。

これらの内容は、「新たな小児慢性特定疾患対策の確立について」(雇児発第0221001号)、および「小児慢性特定疾患児日常生活用具給付事業の実施について」(雇児発第0221002号)として、厚生労働省雇用均等・児童家庭局長が全国の実施主体に2005年2月21日に通知した。また、成長ホルモン治療に関しては「小児慢性特定疾患治療研究事業の適正化について」(雇児母

発第0221001号)、血友病などに関しては「新たな小児慢性特定疾患対策の実務上の取扱い等について」(雇児母発第0221002号)として、同日、厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課長が通知した。そして、主要な質問に対する回答例として「小児慢性特定疾患治療研究事業Q & Aの送付について」が、同日、事務連絡として示された。

その後、従来の早見表に代わる内容が、2005年3月に厚生労働省から全国に電子配信された。これに載っている対象疾患および対象基準は、今日の医学的知見に基づき、①慢性に経過する疾患であるか、②生命を長期にわたって脅かす疾患であるか、③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であるか、④長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾患であるか、などを考慮して決められた。

以上の詳細に関しては、厚生労働省のホームページのほか、国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/syorui/syorui0.htm>」、および日本子ども家庭総合研究所「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」を参照されたい。

新たな小慢疾患対策に関しての主な改善・重点化内容は以下の通りである。

##### 1. 法的な位置づけ

小慢事業は、従来は法的根拠のない事業であったが、児童福祉法第21条の9の2に根拠規定を設けて制度の安定化を図った。

##### 2. 対象疾患群と対象疾患の見直し

従来、「先天性代謝異常」疾患群に区分されていた消化器疾患(胆道系疾患を含む)に別の疾患を追加し、新たな「慢性消化器疾患」群を創設したので、10疾患群から11疾患群になった。また、「ぜんそく」疾患群に新たな疾患を追加し、「慢性呼吸器疾患」群と名称を変更した。そして、「血友病等血液疾患」は免疫疾患などを含んでいるので、「血友病等血液・免疫疾患」群とした。

対象疾患数は、従来の課長通知の488疾患か

## —小児科—

ら、大臣告示では514疾患に増えた。

### 3. 対象患者の重点化

対象者の認定基準の策定に当たっては、重篤な慢性疾患の患者を基本として、支援の必要性を考慮した。疾患の特性に合わせて、症状、検査値、治療内容などによる簡便な認定基準を策定し、一定の基準により対象者の重点化を図った。

### 4. 通院拡大

従来、1カ月以上の入院のみ対象としていた疾患群が存在したが、すべての疾患群において、入通院とも対象とした。

### 5. 対象年齢の延長

従来、対象年齢が18歳未満の疾患と20歳未満のものが存在したが、すべての疾患において、新規認定は18歳未満、継続認定は20歳未満までとした。

### 6. 福祉サービス

小慢疾患児養育経験者などによる相談事業（都道府県事業）や、患者に対する日常生活用具の給付（市町村事業）を行う福祉サービスを実施した。

### 7. 費用徴収

他の公費負担医療との均衡や子育て家庭の家計への配慮、小慢事業として初めて費用徴収を導入することなどを総合的に勘案して、階層区分による負担限度額を設定した。ただし、低所得者に配慮し、市町村税非課税世帯は負担を免除した。また、医療機関、地方公共団体の事務負担軽減なども考慮し費用徴収の階層区分を簡素化した。

---

## V. 小児の慢性疾患の頻度<sup>7)</sup>

---

比較的多くの子どもたちが各種の慢性疾患に罹患しながら、一般社会のなかで暮らしている。全国的に幼稚園児や小中学生は、2000～2001年度小慢事業に約200人に1人の割合で登録され

ていた。5～9歳児人口1,000対4.9、10～14歳児人口1,000対5.0であった。

15歳未満の小児癌患児は1,004人に1人、15歳未満の小児内分泌疾患患児は765人に1人の割合で生活していると推計された。また、成長ホルモン分泌不全性低身長症は10～14歳児の964人に1人、1型糖尿病は10～14歳児の4,509人に1人、若年性関節リウマチは5～14歳児の約1万人に1人、胆道閉鎖症は約1万人に1人、血友病Aは約2万人に1人であった。国の小慢事業以外の登録も含めると、幼児の約5%が気管支喘息に、また、幼稚園児や小中学生の約200人に1人が慢性心疾患に罹患していると推計された。

---

## VI. 小児慢性特定疾患治療研究事業による登録人数<sup>6)</sup>

---

1998年度から全国で使用されている小慢疾患10疾患群の医療意見書、および成長ホルモン治療用意見書の内容は、電子データとして厚生労働省に2004年8月中旬までに事業報告が行われ、延べ641,134人分の資料が疫学的、縦断的に解析された。これらは、治療研究事業として研究の資料にすることへの同意を患児の保護者から得ている。また、この電子データには、自動計算された患児の発病年月齢や診断時（意見書記載時）の年月齢は含まれるが、プライバシー保護のため、患児の氏名や生年月日、意見書記載年月日などは自動的に削除されている。

### 1. 年度別登録人数

1998年度、1999年度、2000年度小慢事業の資料は、すべての実施主体から事業報告があり、全国延べ各々106,790人分、115,893人分、120,652人分であった。

2001年度は、全国87カ所の実施主体のうち86カ所から事業報告があり、延べ116,685人（成長ホルモン治療用意見書提出例10,232人は

重複して算出)分であった。2002年度は、全国89カ所の実施主体のうち86カ所から事業報告があり、延べ112,021人(成長ホルモン治療用意見書提出例9,829人は重複して算出)分であった。2003年度は、全国95カ所の実施主体のうち44カ所から事業報告があり、延べ69,093人(成長ホルモン治療用意見書提出例5,417人は重複して算出)分であった。

1999年度以降の登録は、1998年度に比較して全般的に登録数がやや増加し、また明らかなコンピュータ入力ミスなど不明な内容が減少していた。したがって、小慢疾患の全国的な実態をより反映した、より正確な資料となっていた。

## 2. 疾患別登録人数

2002年度全国で1,000人以上登録された疾患および登録人数は、都道府県単独事業も含めて多い順に、成長ホルモン分泌不全性低身長症11,804人、白血病6,684人、甲状腺機能低下症5,979人、気管支喘息\*5,608人、1型糖尿病3,708人、脳(脊髄)腫瘍3,633人、ネフローゼ症候群\*3,127人、甲状腺機能亢進症3,105人、神経芽腫2,816人、川崎病\*2,461人(冠動脈瘤・拡張症・狭窄症を含めると3,924人)、心室中隔欠損症\*2,345人、血管性紫斑病2,259人、思春期早発症2,145人、若年性関節リウマチ2,081人、胆道閉鎖症2,019人、慢性糸球体腎炎\*1,974人、悪性リンパ腫1,374人、血友病A1,256人、慢性甲状腺炎1,102人、ターナー症候群1,093人、水腎症\*1,053人、2型糖尿病1,042人、網膜芽細胞腫1,042人であった(\*を記した疾患は、1カ月以上の入院が対象であるため、登録人数は実人数より少ない)。

## 3. 非登録者の問題と情報提供

小慢事業の登録人数には、市町村事業である乳幼児医療費助成制度利用者、また、小慢事業への非同意者は含まれていない。2002年度は、一部の実施主体から疾患群ごとの非同意者数の報告があり、その割合は、25カ所の平均が1.1%、8カ所の平均が11.3%、33カ所全体とし

て平均3.2%であった。

非同意者に関しては、患児家族に十分に説明して理解と同意を得られるようにしたい。その一つの方法として、個人情報はずべて除いたうえで研究班の成果をホームページ(厚生労働科学研究成果データベース「<http://webabst.niph.go.jp/>」、国立成育医療センター研究所成育政策科学研究部「<http://www.nch.go.jp/policy/shoumann.htm>」、日本子ども家庭総合研究所「<http://www.aiiku.or.jp/aiiku/mch/syoman/syo.html>」)に公表した。頻度の比較の高い疾患に関しては、男女別、年齢別、合併症の有無別、経過別の登録人数も掲載した。

## 4. 小児慢性特定疾患治療研究事業の有用性

10疾患群ごとの解析結果に関しては、高い登録率と登録データの精度の向上によって小慢事業の疫学的な有用性が高まっている。たとえば悪性新生物では、従来の全国小児癌登録と比較して、脳神経外科医の申請が多い脳腫瘍、整形外科領域の骨肉腫、Ewing腫瘍の頻度が高かった。欧米諸国との比較では、神経芽腫の頻度が高く、悪性リンパ腫、とくにホジキン病が低かった。近年、小児の悪性新生物の治療成績が大きく向上した背景として、小慢事業の支援によりすべての子どもが十分な治療を受けられることが大きな要因としてあげられる。フェニルケトン尿症は推計88%が小慢事業に登録されており、先天性代謝異常は全国規模の疾患別患者数をかなり把握できていると考えられる。

しかし、実施主体から送られてくる電子データのみでは信頼性に欠ける部分が残されている。そこで、今後はそこに載っている医療機関名を基に、必要に応じて登録疾患に関する2次調査や追跡調査を実施し、同一疾患の患児を治療している医療機関の全国的なネットワークをつくり、必要な情報交換を即座に行えるシステムを構築したい。最終的には、患児家族の同意を得て各種の資料を集めたデータバンクを中央で管理し、データを経年的に蓄積するなかで、

その解析結果を患児家族や医療機関に提供するシステムを構築したい。

## Ⅶ. 慢性疾患の子どもとその家族の要望<sup>5)</sup>

厚生労働省の検討会の報告書によれば、慢性疾患のある子どもとその家族の要望は、①より良い医療、②安定した家庭、③積極的な社会参加、の3つに集約されていた。

①は、さらなる研究の推進、診療の向上によって、より良い医療を受け、可能な限り治癒・回復を図ることである。法制化後の小慢事業によって改善させたい。

②は、家族がまとまりながら慢性疾患のある子どもを支えつつ、家族全員がそれぞれの人生を充実して送ることである。慢性疾患の子どもが心配なく療養を続けるために、家族が安定することが欠かせない。そのため、ケアの負担軽減や、きょうだいや家族の支援、職場での配慮が望まれる。

③は、慢性疾患のある子どもが教育や就職など、社会参加することである。本来、もって生まれた能力の可能性を十分に発揮したい、または、させたいという願望は、一般の子どもとその家族がもつもの以上に強い。教育は、学習の遅れの補完、学力の向上、積極性・自主性・社会性の涵養、心理的安定など、子どもが自立し社会参加していくために欠かせない。不必要な制限が行われたり、無理な活動を強いたりするなど不適切な対応を避け、疾患に応じた適切な支援、教育を受けられるようにしなければならない。

以上の要望は、慢性疾患のない子どもとその家族が、健康、安定した家族、社会参加を求めると同質である。一方、慢性疾患に罹ること

は、本人の責任ではなく、さまざまな負担を自らですべて負うことも困難である。慢性疾患のある子どもとその家族が社会の構成員として、社会と関わりながら生活できるように、一般の人々がその存在を正しく認知し、社会全体で支援するという気持ちをもつことが大切である。

慢性疾患児には、生活上の規制、運動制限など日常生活、学校生活の管理指導が重要な場合がある。しかし、子どものQOL（生命・生活の質）を高め、一人ひとりが生きる喜びをもてるようにしたい。同じ年齢の子どもが経験すること（いろいろな遊び、家庭生活、学習など）を可能な範囲で体験させたい。

## 文 献

- 1) 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
- 2) 加藤忠明：小児慢性特定疾患の全国登録状況。小児科41：1487-1493、2000
- 3) 平成10年度厚生科学研究報告書：母子保健情報の登録・評価に関する研究（主任研究者 柳澤正義）、1999
- 4) 平成14年度厚生労働科学研究報告書：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（主任研究者 加藤忠明）、2003
- 5) 厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課：「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」報告書、2002
- 6) 平成16年度厚生労働科学研究報告書：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（主任研究者 加藤忠明）、2005
- 7) 加藤忠明、斉藤 進：小児慢性特定疾患患者の登録割合。平成15年度厚生労働科学研究「小児慢性特定疾患患者の療養環境向上に関する研究」報告書（主任研究者 及川郁子）、pp 5-9、2004