

分担研究課題 成長ホルモン治療の登録・評価に関する研究

研究分担者 伊藤善也 日本赤十字北海道看護大学教授

分担研究“成長ホルモン治療の登録・評価に関する研究”においては成長ホルモン（GH）療法の診療実態について調査した。そこから抽出された要望に応える形で最終年度には中央登録された小児慢性特定疾患治療研究事業の登録データをもとに治療効果の解析を行った。

それぞれの年度における研究要旨は以下の通りである。

平成 19 年度

初年度はまず予備的に北海道内の小児科外来 269 施設を対象に GH 療法の診療実態を調査した。回収率は 56.9%である。GH 療法は 27.6%で行われており、規模の大きな病院ほど、その割合と対象患者が多かった。GH 療法の対象者は GH 分泌不全性低身長症が最も多く、45.2%の施設がこの疾患の患者のみに GH 療法を実施していた。自己注射手技を指導する医療職は医師と看護師が多かったが、95.2%の病院で指導に際して使用する資料は製薬会社から提供されたものであった。また GH 療法を導入後に自己注射手技の確認を定期的には実施していない実態が明らかになった。GH 処方は 1 か月分で、検査は年 4 回施行するとしたところが多かった。また治療中の医療費に対して患者が利用する公的給付制度は多くが小慢事業医療給付であった。GH 療法に関する情報源として重要なものとして挙げられたなかでは製薬会社医療情報担当者が最も多かった。次いで小児科関係の学術雑誌、製薬会社主催の研究会や講演会、同門などの専門医、そして日本小児内分泌学会学術集会などであった。しかし最重要とする情報は専門医からの情報や学術雑誌からの情報としていた。

平成 20 年度

平成 19 年度に行った北海道内の調査に引き続き、平成 20 年度は全国調査を実施した。1063 の病院に調査票を郵送し、499 件の回答を得た（回収率は 47.1%）。回答施設の内訳は病院が 79.6%、クリニックが 20.6%であった。GH 療法を行っている外来枠は一般外来が 51.0%、常勤医による専門外来が 37.3%、非常勤による専門外来が 11.7%であった。担当医の GH 療法の経験年数は 10 年以上 20 年未満が 44.1%と最も多く、専門医が担当している割合は全体の 37.9%であった。GH の処方量は 1 か月分が 72.0%と多かった。GH 療法中に検査を行う頻度は年 2 回が 27.6%と最も多かった。投与量を調整する頻度は体重測定毎とするものが 45.2%であり、年 1 回程度というのが 35.9%であった。有害事象により GH 療法を中止した経験を有する回答者は 21.1%であった。医療費の給付制度の利用割合を調べると小慢事業が 90.1±16.8%、生活保護医療扶助が 1.6±4.5%、乳幼児・学童等医療費助成が 2.6±8.8%で医療保険のみとするのが 4.4±10.1%であった。GH 療法に関する情報源として挙げられたのは製薬会社の MR、製薬会社主催の研究会、日本小児内分泌学会学術集会と雑誌・著書などであった。さらにその中で最重要と考えられているのは日本小児内分泌学会学術集会であった。さらにどのような情報が必要かでは安全性や副作用に関するものと最終身長に関するものが多かった。小慢事業への要望をまとめると適応基準の緩和と医療費自己負担の地域差の是正がそれぞれ 79 件、13 件と多かった。

平成 21 年度

GH 療法を受けている 4 疾患群を対象に中央登録された平成 18 年度データを用いて短期的および長期的な治療効果の解析を試みた。登録された 12028 例のうちデータの解析が可能であった 7195 例を対象とした。治療開始年齢は幼児期が最も多かった。治療開始 1 年目の身長増加率 (cm/年) をみると E23.0E は 8.2 ± 2.5 (n=177) であった。年齢別にみると幼児期(8.2~10.9)と思春期 (7.3~10.3) が高く、男児では 8 歳、女児では 6 歳が最低値であった。E23.0E において 5 年以上治療を行ったものを継続申請時の年齢別にみると 11 歳以上において現在の身長 SD スコアは 11 歳の -1.60 ± 0.82 (327)を頂値にして 14 歳以降も低減化していた。治療開始時と比較した身長 SD スコアの改善度も同様に低くなっており、14 歳から順に 0.56 ± 0.69 、 0.27 ± 0.95 、 0.32 ± 0.68 であった。さらに標準的な成長率から予測した成人身長は男児で約 154cm、女児で約 143cm であった。Q96 においては現在の身長 SD スコアは 11 歳の -2.43 ± 0.70 (57)を頂値にして、13 歳で -2.93 ± 0.81 (61)、14 歳で -3.05 ± 0.79 (59)、15 歳で -3.07 ± 0.87 (52)であった。治療開始時と比較した身長 SD スコアの改善度はそれぞれ、15 歳で 0.18 ± 0.73 であるが、それ以降も増加していた。中央登録されたデータ数は膨大であり、国内の成長ホルモン治療のデータベースとして貴重である。今後はそのデータを活用した治療成績の評価などの解析が期待される。