

平成 26 年度 厚生労働科学研究費補助金
(成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業 (健やか次世代育成総合研究事業))
「今後の小児慢性特定疾患治療研究事業のあり方に関する研究」
分担研究報告書

外科疾患における小児慢性特定疾患治療研究事業のあり方に関する研究

研究分担者：仁尾 正記 (東北大学大学院医学系研究科小児外科学 教授)

研究要旨 従来、小児外科疾患は手術すれば完治するという認識で小慢の対象になっていなかった。しかし実際は外科手術だけでは完治できず、長期にわたり症状が持続し、生命を脅かし、成人期までトランジションする疾患も多くあるため、初回手術時のみの育成医療による医療費助成では不十分なものが多く存在するのが現実である。今回、小児慢性特定疾患治療研究事業 (小慢) の見直しにあたり、難治性の小児外科疾患で、小慢の対象となる疾患を難治性疾患の研究班 (田口班、仁尾班、窪田班、臼井班) を主体にピックアップし、診断基準、重症度分類、疾患概要を整備し、これを日本小児外科学会で検討し承認した。その結果、ピックアップした疾患の大部分が平成 27 年 1 月 1 日施行の新制度の対象疾患として認定された。その中には同日難病に指定された疾患もある。また日本小児外科学会にトランジション検討委員会を発足させた。今後、トランジションする疾患は難病指定に向けて、必要な資料を提供するとともに、登録事業や臨床研究にこの制度を生かせるように日本小児外科学会として小慢事業と積極的に連携していくべきである。

A. 研究目的

小児疾患の医療費助成制度は、小児慢性特定疾患治療研究事業 (小慢)、自立支援医療費 (育成医療)、特定疾患治療研究事業 (難病)、養育医療 (低出生体重児)、乳幼児医療、身体障害者手帳、などがあり、従来、小児の外科的疾患は入院して手術をうけ完治することを前提に、育成医療の対象となってきた。そのため長期的に成人期に達するまで医療費助成が必要な内科的疾患に主眼をおいた小慢の対象として検討される機会がほとんどなかった。いままで小慢の対象となってきた外科疾患は、日本小児科学会の分科会である日本小児栄養消化器肝臓学会や日本小児血液・がん学会が治療の対象とする疾患 (小児悪性固形腫瘍、胆道閉鎖症、先天性胆道拡張症) に限定されてきたのが現状である。

しかし小児外科疾患のなかには、外科手術だけでは完治できず、長期にわたり症状が持

続し、生命を脅かし、疾患によっては成人期までトランジションするものもあるため、初回手術時のみの育成医療による医療費助成では不十分なものが多く存在する。今回、小慢事業の見直しにあたり、小児外科疾患のうち小慢の条件を満たす疾患をピックアップし、小児内科的疾患と同様に、小慢事業の 3 つの柱である、公平で安定的な医療費助成の仕組みの構築、研究の推進と医療の質の向上、慢性疾患を抱える子どもの特性を踏まえた健全育成や社会参加の促進と家族に対する地域支援の充実、という慢性疾患を抱える子どもとその家族に対する支援施策の充実を享受できるように、小慢事業の検討対象を検討することを目的とする。

B. 研究方法

小慢の見直しにあたり、対象疾患となる小

慢の4要件である ①発症後6ヵ月以上にわたって症状が持続する(慢性に経過する疾患)、②無治療でいると死に至る(生命を長期にわたって脅かす疾患)、③症状や治療による生活の制限により、長期にわたり、生活の質が低下する、④長期にわたって高額な医療費の負担が続く、をすべてみたし、かつ、診断基準、治療指針に関するガイドラインのあること、となった。そこで、いままで小慢の対象となっていた外科的疾患(小児悪性固形腫瘍、胆道閉鎖症、先天性胆道拡張症)に加え、4要件を満たす疾患を、厚労省の研究班(田口班、仁尾班、窪田班、臼井班)の対象となっている疾患を中心に、日本小児外科学会の理事会に諮り疾患のピックアップを行った。

その結果は以下の疾患がリストアップされた。

総排泄腔遺残
 総排泄腔外反症
 声門下狭窄症
 喉頭気管食道裂
 リンパ管腫
 喉頭狭窄
 肝巨大血管腫
 仙尾部奇形腫
 潰瘍性大腸炎、クローン病
 ヒルシュスプルング病
 慢性特発性偽性腸閉塞症
 巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症
 腸管神経節細胞僅少症
 食道閉鎖症
 先天性横隔膜ヘルニア
 鎖肛
 短腸症

C. 研究結果

これらを事務局で判定していただいた結果が以下ようになった。

(○:4条件をみたす、△:事務局で不十分と判断、×:条件を満たさない)

総排泄腔遺残	○
総排泄腔外反症	○
声門下狭窄症	△
喉頭気管食道裂	△
リンパ管腫	○
喉頭狭窄	○
肝巨大血管腫	○
仙尾部奇形腫	○
潰瘍性大腸炎、クローン病	○
(備考:すでに難病指定)	
ヒルシュスプルング病	○
慢性特発性偽性腸閉塞症	○
巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症	○
腸管神経節細胞僅少症	○
食道閉鎖症	△
先天性横隔膜ヘルニア	△
鎖肛	△
短腸症	△

これに既存の小慢対象疾患も加えてカテゴリ一別に分類されたものが以下ようになった。なお声門下狭窄症と喉頭狭窄は「気道狭窄」としてまとめられた。短腸症は対象疾患を先天性疾患と外傷に限定することで対象になった。

悪性新生物	
固形腫瘍（中枢神経系腫瘍を除く）	神経芽腫、ウィルムス腫瘍、肝芽腫など具体的病名あり
慢性呼吸器疾患	
気道狭窄	
リンパ管腫	
先天性横隔膜ヘルニア	
神経筋疾患	
仙尾部奇形腫	
慢性消化器疾患	
胆道閉鎖症	
先天性胆道拡張症	
ヒルシュスプルング病および類縁疾患	ヒルシュスプルング病 慢性特発性偽性腸閉塞症(CIIP) 巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症(MMIHS) 腸管神経節細胞僅少症 (Congenital hypoganglionosis)
肝巨大血管腫	
総排泄腔遺残	
総排泄腔外反症	

潰瘍性大腸炎、クローン病（難病指定済み）	
短腸症	

これらの疾患について、それぞれの疾患を研究対象としている厚労省難病研究班（田口班、仁尾班、窪田班、臼井班）で診断基準と重症度分類と疾患概要を作成し、その内容を日本小児外科学会にて審議し承認した。なお、悪性新生物は日本小児血液・がん学会が担当、気道狭窄は日本小児呼吸器疾患学会と共同で作成した。さらに意見書についても研究班のメンバーで原案を作成し、事務局の調整を仰いだ。

最終的にここで残った小児外科疾患は、すべて小慢の対象疾患となり、平成 27 年 1 月 1 日から新制度がスタートした。またこのうち慢性特発性偽性腸閉塞症(CIIP)、巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症(MMIHS)、腸管神経節細胞僅少症(Congenital hypoganglionosis)のヒルシュスプルング病類縁疾患 3 疾患は平成 27 年 1 月 1 日に難病としても指定された。

D. 考察

慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（中間報告）平成 25.12 月（小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会）にて小慢事業の目的は 1.医療費助成、2.登録・管理、3.データの収集・解析・公表とし、現在の課題は 1.公平で安定的な医療費助成制度の確立、2.地域差・施設間差を生じないより公平な診断の確立、3.成人移行後の他事業へのスムーズな連携、4.小慢疾患対策の研究の促進、5.医療データベースとしての内容の充実、とした。今回小慢の見直し作業を遂行した日本小児科学会小慢委員会に日本小児外科学会が日本小児期外科系関連学会協議会の代表として参加できた。このこと

は大きな進歩である。

いままで小慢の要件を満たしているのに小慢の対象疾患として認知されていなかった外科疾患が審議の土俵に上ることができ、結果的に小慢の対象疾患としていくつかの小児外科疾患が承認されたのは、日本の小児外科の歴史上はじめてのことであり、小児外科疾患をもつ子どもたちにとって大きな意義をもつ。

小児外科は専門医の基本領域が外科専門医であり、診療形態も外科教室から独立したり、現在も外科教室の 1 部として診療している場合もあるため、政策的に小児科との連携が稀薄で、小児外科疾患をもつ患児が小児医療の政策的恩恵をうけにくい状況である。これは患児のために非常に不都合である。今回、小児医療の枠組みに小児外科が加わられたのは大いなる一歩と考えられる。またこういった動きのなかで日本小児外科学会のなかに「トランジション検討委員会」を立ち上げて活動開始したのも大きな進歩である。

E. 結論

難治性の小児外科疾患で、小慢の対象となる疾患を研究班ベースにピックアップし、診断基準、重症度分類、疾患概要を整備し、これを日本小児外科学会で検討し承認し、平成 27 年 1 月 1 日施行の新制度の対象疾患として認定された。また日本小児外科学会にトランジション検討委員会を発足させた。今後、トランジションする疾患は難病指定に向けて、必要な資料を提供するとともに、登録事業や臨床研究にこの制度を生かせるように日本小児外科学会として小慢事業と積極的に連携していくべきである。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

- 1) Nio M, Wada M, Sasaki H, Tanaka H.
Effects of age at Kasai portoenterostomy on the surgical outcome: a review of the literature, Surg Today, 2014 Sep 12
[Epub ahead of print] PubMed PMID: 25212566
- 2) Sasaki H, Tanaka H, Wada M, Kazama T, Nishi K, Nakamura M, Kudo H, Kawagishi N, Nio M. Liver transplantation following the Kasai procedure in treatment of biliary atresia: a single institution analysis, Pediatr Surg Int.2014 Sep; 30(9): 871-5. doi: 10.1007/s00383-014-3552-4. Epub 2014 Jul 27. PubMed PMID: 25064225
- 3) 仁尾正記, 佐々木英之, 田中祐, 岡村敦, 渡邊智彦. 【小児肝胆膵疾患のトランジション】 小児肝疾患の外科的治療 葛西手術. 肝・胆・膵. 69 巻 4 号 pp.519-525, 2014.
- 4) 田中祐, 和田基, 佐々木英之, 風間理郎, 西功太郎, 工藤博典, 中村恵美, 山木聡史, 鹿股利一郎, 渡邊智彦, 仁尾正記. 【エビデンスに基づく手術の適応とタイミング】 当科における先天性嚢胞性肺疾患 [先天性嚢胞状腺腫様奇形 (CCAM) および肺分画症] での検討, 小児外科 46 巻 8 号 pp.798-802, 2014.
- 5) 工藤博典, 和田基, 仁尾正記. 【Intestinal Failure への挑戦】 新生児期、乳児期発症

の Intestinal failure の病態とその予後 特に肝障害の観点から, 消化と吸収 36 巻 3 号 pp.295-300, 2014.

- 6) 工藤博典, 和田基, 仁尾正記. 【小児の移植】 小児移植医療 小腸移植.移植 49 巻 2-3 pp.215-223, 2014
- 7) 佐々木英之, 田中祐, 仁尾正記. 【肝胆膵・術後病態を学ぶ】 膵胆管合流異常・先天性胆道閉鎖症術後 胆汁性肝硬変・肝不全に至る場合は(どのような疾患に移植が必要となるか、その頻度・術後経過時間も含めて), 肝・胆・膵 69 巻 1 号 pp. 29-35, 2014.
- 8) 仁尾正記. 胆道閉鎖症, 日本小児外科学会雑誌 50 周年記念号 Page210-212, 2014
- 9) 西功太郎, 仁尾正記, 和田基, 佐々木英之, 風間理郎, 工藤博典, 田中祐, 中村恵美, 天江新太郎. 【直腸肛門奇形術後遠隔期の評価と再手術】 直腸肛門奇形術後の高度排便機能障害に対して antegrade continence enema 法を導入した 3 例, 小児外科 46 巻 1 号 pp.61-65, 2014

2. 学会発表

- 1) Nio M, Wada M, Sasaki H, Tanaka H: Does hepatic hilum morphology influence long-term prognosis in type I/I cyst biliary atresia? 2014/5/28, 47th Pacific Association of Pediatric Surgeons, Banff
他 72 件

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし