

## 内分泌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 緒方 勤（浜松医科大学小児科 教授）

### 研究要旨

本分担研究では、以下の事項について検討した。すなわち、小児慢性特定疾患治療研究事業が偏在なく施行されているかを評価するため登録状況の動向を解析すること、これら稀少疾患の実態を臨床医にフィードバックできるよう臨床像の解析を行うこと、疾患の登録状況を解析すること、である。登録状況は、平成 17 年度の法制化後の平成 22 年度、平成 23 年度、平成 24 年度について検討を行った。登録状況については、都道府県別、疾患別で検討を行い、登録数はほぼ一定に推移していた。さらに上位 10 疾患の総登録患者数、男女別、性比の検討を行った。上位 10 疾患の占める割合は、約 92～94%で推移し、登録疾患も一定していた。登録数が最も多い疾患は、平成 22 年度～平成 24 年度では、成長ホルモン分泌不全性低身長症であり、先天性甲状腺機能低下症、甲状腺機能亢進症であった。臨床像解析としては、平成 24 年度の 1 型糖尿病、2 型糖尿病における登録患者を用いて、HbA1C、インスリン治療の有無、経口糖尿病薬の評価を行った。さらに、疾患名の ICD10 コードは、他の疾患名にも使用されている場合がある。ここでは、ICD10 コードと疾患の登録状況について評価を行った。

### A. 研究目的

小児慢性特定疾患（小慢）治療研究事業（小慢事業）では、統一されたフォーマットによるデータベースが構築されており、稀少な慢性疾患の疫学的解析および縦断的解析に利用することが可能である。本分担研究では、小慢事業が偏在なく施行されているかを評価するため平成 17 年度以降の法制化後の平成 22 年度、平成 23 年度、平成 24 年度の登録状況の動向を解析するとともに、これら稀少疾患の実態を臨床医にフィードバックできるよう臨床像の解析を行った。臨床像の解析としては、1 型糖尿病、

2 型糖尿病において総数、男女別の人数、男女比などの検討を行った。さらに、ICD10 コードと病名の登録状況について検討を行った。

### B. 研究方法

#### 1) 都道府県別および登録患者数の年次推移

平成 22 年度、平成 23 年度、平成 24 年度の登録数を集計した。政令指定都市、中核都市の登録数は所属する都道府県にまとめて集計した。

#### 2) 登録が多い上位 10 疾患の年次推移

登録が多い上位 10 疾患について、総患者数、男女比を集計した。

### 3) 臨床像の解析

#### a) 1型糖尿病患者の解析

平成24年度の各登録患者を用いて、HbA1C、インスリン治療の有無、経口糖尿病薬の評価を行った。

#### b) 2型糖尿病患者の解析

平成24年度の各登録患者を用いて、HbA1C、インスリン治療の有無、経口糖尿病薬の評価を行った。

### 4) 病名の登録状況の解析

疾患名のICD10コードは、他の疾患名にも使用されている場合がある。ここでは、ICD10コードと疾患の登録状況について評価を行った。

(倫理面への配慮)

本研究は、理論的研究であり、患者等の個人情報を使用しないため、特段の倫理的配慮は要しないと考える。

## C. 研究結果

### 1) 都道府県別および登録患者数の年次推移

表1に示すように、平成22年度～平成24年度的全登録数はほぼ一定して推移していた。

### 2) 登録が多い上位10疾患の年次推移

表2に示した。平成22年度～平成24年度の上位10位の内分泌疾患群患者の全体に占める割合は、平成22年度が約92%、平成23年度、平成24年度は約94%であった。表2に示すように、登録数が最も多い疾患は、成長ホルモン分泌不全性低身長症であり、続いて、先天性甲状腺機能低下症、甲状腺機能亢進症、ターナー症候群、中枢性思春期早発症、慢性甲状腺炎、思春期早発症、21水酸化酵素欠損症、プラダー・ウィリ症候群、中枢性尿崩症であった。平成22年度～平成24年度の登録数はほぼ一定して推移していた。平成24年度は、中枢性思春期早発症の登録数が減少し、思春期早発症の登録数が

増加していた。

### 3) 臨床像の解析

#### a) 1型糖尿病患者の解析

解析結果を表3に示した。男子2,304例、女子3,099例が解析対象となった。

HbA1Cは男子 $8.6 \pm 3.5\%$ 、女子 $8.9 \pm 4.4\%$ であった。インスリン治療されている比率は、男女ともに約97%であった。インスリン治療されていない比率は、男子約2.0%、女子約2.8%であった。経口糖尿病薬の治療がされている比率は、男子1.6%、女子約1.3%であった。経口糖尿病薬の投薬治療がされていない比率は、男子約98%、女子約98%であった。

#### b) 2型糖尿病患者の解析

解析結果を表4に示した。男子468例、女子552例が解析対象となった。

HbA1Cは男子 $8.3 \pm 3.8\%$ 、女子 $8.5 \pm 4.7\%$ であった。インスリン治療されている比率は、男子約35%、女子約39%であった。インスリン治療されていない比率は、男子約65%、女子約61%であった。経口糖尿病薬の治療がされている比率は、男子約76%、女子約72%であった。経口糖尿病薬の投薬治療がされていない比率は、男子約24%、女子約28%であった。

### 4) 病名の登録状況の解析

疾患名のICD10コードは、他の疾患名にも使用されている場合がある。クレチン症では、先天性甲状腺機能低下症、異所性甲状腺と登録されているのでICD10コードでの検索が有用である。同様に、橋本病、慢性甲状腺炎に関してはICD10コードが同一であることから、データベースを利用する場合には現状でも大きな問題は生じないと思われる。一方で、データベースは簡潔である方が管理しやすく精度の向上につながると考えられるため、病名の統一が有用であると思われる。中枢性思春期早発症と思春期早発症については、登録されているICD10コードが2種類あり、これらは同一病態でない

場合もあり、疾患別のデータベース構築という観点からは、登録の見直しが必要であると思われる。

#### D. 研究発表

1. 論文発表  
なし
2. 学会発表  
なし

#### E. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得  
なし
2. 実用新案登録  
なし
3. その他  
なし