

## 成育医療からみた小児慢性特定疾病対策の在り方に関する研究

研究代表者 賀藤 均(国立成育医療研究センター病院 病院長)

### 研究要旨

本研究班では、慢性疾患を抱える子どもたちへの医療費等支援施策として平成 27 年 1 月に旧事業から現行制度へと移行された小児慢性特定疾病対策の適正な実現のための、必要な基礎資料の提示や具体的な推進方策の提案ならびに実践的基盤の提供を目的としている。

小児慢性特定疾病対策では、5 年以内を目処として見直しが行われ、現状を踏まえた施策の実行が求められている。近年の課題として、医療意見書が匿名化・電子化された小児慢性特定疾病児童等データベースの利活用に向けた整備、患児の自立へ向けた支援体制の提供、小児慢性疾患への医療経済評価の観点の導入等を掲げている。本年度、本研究班はこれらの解決のため、以下の研究を行った。まず、現行の小児慢性特定疾病対策の施行に合わせ新制度となった小児慢性特定疾病児童等データベースの集計分析を行った。令和 2 年 3 月末日時点の医療意見書の登録状況は、平成 27(2015)年度は 84,744 件、平成 28(2016)年度は 87,213 件、平成 29(2017)年度は 81,494 件であった。登録率は、7~8 割程度と推定され、登録状況の概要の把握が可能であった。全国の実施主体における受給者証の更新月および支給認定の独自運用の有無を調査したところ、更新月は実施主体により差異があり、一部の実施主体では支給認定に独自の追加基準が設けられていた。小児慢性特定疾病患児の生活機能の適切な評価と社会参加の支援のために、疾患群別の上位申請疾患の 8 疾患について、国際生活機能分類のコードによる医療意見書の情報項目のコーディングを行い、疾患ごとに生活機能を分類し得ることを示した。小児慢性疾患領域への医療経済評価の導入として行った、医療経済ビッグデータを用いた川崎病の治療法選択の費用対効果の分析では、より発展的な検証が、限られた資源の公正な再分配の在り方を検討する際に有用であると期待される結果が得られた。また、国民健康保険の診療報酬明細書データを利用した公費医療の実態に関する検討では、子ども医療費助成の拡充が小児慢性特定疾病の受給に与える影響は、年長児においては少ないことが示唆された。慢性疾患を抱える子どもたちの実情を把握するために行った患者実態調査より、望まれる社会支援の内容は、患児の病状や年齢によって異なること、および患児の生活の質と学校病院間の連携についての保護者の捉え方には関連が認められることが明らかとなった。以上の研究成果を踏まえ、引き続き政策への貢献、社会への情報提供に努めたい。

### 研究分担者:

横谷 進 (福島県立医科大学 ふくしま  
国際医療科学センター 特命教  
授 / 甲状腺・内分泌センター長)

大竹 明 (埼玉医科大学 医学部小児  
科・ゲノム医療科 教授)  
田倉 智之 (東京大学 大学院医学系研究  
科医療経済政策学講座 特任教  
授)

落合 亮太 （横浜市立大学 大学院医学研究科看護学専攻 准教授）  
小松 雅代 （奈良県立医科大学 医学部看護学科公衆衛生看護学 講師）  
掛江 直子 （国立成育医療研究センター

臨床研究センター生命倫理研究室 室長）

盛一 享徳 （国立成育医療研究センター研究所小児慢性特定疾病情報室 室長）

## A. 研究目的

わが国の慢性疾病を抱える子どもたちへの支援は、昭和 49 年より始まった小児慢性特定疾患治療研究事業を起源とし、以来、医療費の自己負担の軽減、対象疾患や用具給付等福祉サービスの拡充、疾患研究を進めるための医療情報の収集が行われ、一定の成果を上げてきた。平成 17 年には児童福祉法を根拠とする法定事業となり、平成 26 年に児童福祉法の一部改正が行われ（平成 26 年法律第 47 号）、平成 27 年 1 月、「小児慢性特定疾病その他の疾病にかか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等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針」（平成 27 年厚生労働省告示第 431 号）として新たに小児慢性特定疾病対策が施行された。現行の制度は、5 年以内を目処とした見直しが定められ、現状を踏まえた施策の実行が求められている。

医療技術等が著しく進歩した昨今、30 年以上前と比べて疾病による小児の死亡率は約 1/3 に減少したものの、慢性疾病を抱えて成長する子どもが増えており、生活の質の向上や、自立に必要な支援の在り方の検討が課題となっている。また、高額医薬品の出現等から、限られた資源の公正な再分配の在り方を検討する必要性が高まっている。さらに、小児慢性特定疾病対策の平成 27 年 1 月の制度改正に合わせ、新制度に移行された医療意見書データの登録データベースを管理運用し、研究へと利活用を推進することも検討すべき課題として残されている。

本研究班は、これらの課題解決のために必要な基礎資料の提示や、具体的な推進方策の提案ならびに実践的基盤の提供を目的として研究を行った。

## B. 研究方法

本研究班では、各分担研究者が中心となり、以下のような研究を実施した。

- 1) 小児慢性特定疾病児童等データベースの登録状況（現況値） - 平成 27～30 年度の疾病登録状況 -
- 2) 小児慢性特定疾病対策の実施主体ごとの運用の違いに関する検討
- 3) 小児慢性特定疾病を抱える児童等に対する国際生活機能分類（ICF）を用いた支援に関する検討
- 4) 川崎病に対するインフリキシマブ投与の医療経済学的な評価：予備的な研究報告
- 5) 神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データを用いた子ども医療費助成の利用状況の分析と小児慢性特定疾病への影響に関する研究
- 6) 小児慢性特定疾病に対する ICD-10 コード附番に関する検討
- 7) 「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイトの利用状況と情報発信のあり方に関する検討
- 8) 小児慢性特定疾病指定医の研修プログラム（e-learning）の構築及び運用の検討
- 9) 慢性疾病を有する子どもの QOL 及び社会支援等に関する実態調査

## C. 研究結果

各分担研究の成果については、以下の通りである。

### 分担研究 1

#### 「小児慢性特定疾病児童等データベースの登録状況(現況値) - 平成 27～30 年度の疾病登録状況 - 」(小児慢性特定疾病情報室)

平成 27 年 1 月 1 日に施行された新たな小児慢性特定疾病対策では、対象疾病ごとに個別の医療意見書に改正され、より詳細な臨床情報を小児慢性特定疾病児童等登録データベースとして記録している。全国の実施主体は、国立成育医療研究センター内に設置されている医療意見書登録センターへ医療意見書の写しを送付し、登録センターにて登録データベースへのデータ登録が行われている。本研究では、令和 2 年 3 月末日までの登録状況について集計分析を行った。

中核市等の増加により、実施主体数は年々増加しており、平成 27 年度は 112 実施主体、平成 28～29 年度は 115 実施主体、平成 30 年度は 121 実施主体であり、集計時点で 8～9 割の実施主体からの医療意見書が登録されていた。登録状況は、平成 27(2015)年度医療意見書の登録合計 84,744 件、平成 28(2016)年度医療意見書の登録合計 87,213 件、平成 29(2017)年度医療意見書の登録合計 81,494 件であり、一部対象者の多い実施主体からの未送付分等の影響で、登録件数は推定された全国登録件数のおよそ 7～8 割程度であると思われた。

登録件数が多かった対象疾病は、内分泌疾患：成長ホルモン(GH)分泌不全性低身長症(脳の器質的原因によるものを除く。)、糖尿病：1 型糖尿病、内分泌疾患：先天性甲状腺機能低下症、悪性新生物：急性リンパ性白血病、内分泌疾患：バセドウ病、神経・筋

疾患：点頭てんかん(ウエスト症候群)、慢性腎疾患：微小変化型ネフローゼ症候群、慢性心疾患：ファロー四徴症、膠原病：若年性特発性関節炎、慢性消化器疾患：胆道閉鎖症であった。

平成 27 年以降に新規追加された対象疾病以外では、平成 26 年以前の旧制度と比較して概ね同様の登録状況であり、全実施主体における登録状況とはなっていないが、平成 27 年以降の登録状況の概要について把握が可能であると思われた。

### 分担研究 2

#### 「小児慢性特定疾病対策の実施主体ごとの運用の違いに関する検討」(盛一享徳)

小児慢性特定疾病対策は、慢性疾病を抱える子どもたちに対する国の医療費等支援施策であり、医療費助成に必要な支出の 1/2 を国が、残りを実施主体が支出している。施策運用は各実施主体に委ねられていることから、実際の運用については実施主体ごとに差異があることが知られていた。

本研究では、施策運用の実施主体ごとの違いを明らかにすることを目的として、各実施主体に対し、受給者証の更新月および支給認定の独自運用の有無について調査を行った。

その結果、50%の実施主体は 9 月末が更新月となっていた一方、夏、年末、年度末、申請の都度、としている実施主体が 10～15%ずつあり、全体としては地域によって大きく異なっていることが分かった。また 10 の実施主体が支給認定に独自の追加基準を設けていることがわかった。

今後はこれらの差異が施策の利用状況や患者アウトカム等にどのような影響を及ぼしうるのか更なる検討が必要であると思われた。

### 分担研究 3

#### 「小児慢性特定疾病を抱える児童等に対する国際生活機能分類(ICF)を用いた支援に関する

## る検討」(小松雅代)

国際生活機能分類 (International Classification of Functioning, Disability and Health, ICF) は、疾病及び関連保健問題の国際統計分類 (International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, ICD)、医療行為の国際分類 (International Classification of Health Interventions, ICHI) とともに世界保健機関国際分類ファミリー (WHO Family of International Classifications) の中心分類に位置づけられている。ICF には約 1500 の生活機能に関するコードが存在し、ICD とのコードによる連動が可能であり、疾患別の詳細な生活機能分類を統計的に処理することが可能である。本研究は、ICF を用いて小児慢性特定疾病(小慢)患者の生活機能の全体像を明らかにし、療養生活における生活機能全般と経時的な変化および社会参加の支援に対する評価を具体的に提示することを目的とした。本年度は、小慢の疾患群別の上位申請疾患の 8 疾患について医療意見書の情報項目を用いて、ICF コードによるコーディングを行った。結果、いずれの疾患も性別や年齢等の基本情報と血液検査所見等の除外項目を除くほとんどの項目で ICF コードのコーディングが可能であった。このことから、小慢の医療意見書を用いて、疾患ごとの生活機能が分類可能であることが明らかとなった。次年度以降、各疾患の生活機能の現状と課題を分析し、小慢患者の抱える生活機能と社会参加への課題等を行う予定である。

## 分担研究 4

### 「川崎病に対するインフリキシマブ投与の医療経済学的な評価：予備的な研究報告」(田倉智之)

川崎病は中小動脈を首座とした血管炎症候群で、日本においては年間 15000 人ほどが発症しており近年増加傾向にある。本領域の比較的新

しい治療選択として、インフリキシマブ (IFX) が挙げられる。従来の治療方法に対して、IFX も含む新たな治療選択も謳われているが、どの組み合わせが心合併症を予防するのかは、まだ十分に明確になっていない。特に、その医療経済学評価の報告は、本邦において稀有である。そこで本研究は、初回の免疫グロブリン大量静注療法 (IVIG) 不応な川崎病における IFX の 2nd line 以降の使用において、治療期間の短縮および心合併症発症率の低下に伴う効果および医療費を、従来の IVIG およびその他の治療薬と比較する費用対効果評価を目的とした。本研究のデータソースには、日本全国の保険者から収集された診療報酬請求の情報を中心とする医療経済ビッグデータ (TheBD) を選択した。その適格基準は、川崎病に罹患した 15 歳以下の小児で、初回 IVIG が不応・再燃し、2nd line 以降の治療が実施された者を対象とした。エンドポイントは、第一指標を費用対効果評価 (12 か月以上の関連医療費と心合併症イベント数の比) とし、第二指標を心イベントおよび医療費とした。データ抽出の結果、1267 例の川崎病患者のうち、26 名で IFX が使用されていた。また、IFX 非投与例で分析対象となったのは、98 例であった。性別と初発時の年齢は、両群で差は認めなかった。心合併症は、IFX 投与群、非投与群でそれぞれ全体の 15.4%、29.6% であった。 Kaplan-Meier 曲線による分析の結果、初回治療後の心合併症発症率は、IFX 投与群で低い傾向にあるが、有意差は認められなかった ( $p=0.428$ )。入院費用、入院期間は、非投与群に比べて IFX 投与群が小さい傾向にあったが、入院期間のみ統計学的な有意差を認めた (IFX 投与群: 18.5 日 vs. 非投与群: 24.0 日,  $p=0.035$ )。費用対効果分析において、入院総費用 1 万円当たりの心合併症イベント総数は、IFX 投与群が 0.013 回、非投与群が 0.037 回となり、IFX 投与群の方が、費用当たりの心合併症イベント数が少なかった。以上から、初回 IVIG 不応な川崎病において、IFX の 2nd line 以降の使

用は、概ね医療経済学的に良好な傾向にあった。今後、本報告で得られた知見を踏まえつつ、さらなる精緻な解析を進めていく予定である。

## 分担研究 5

### 「神奈川県国民健康保険診療報酬明細書データを用いた子ども医療費助成の利用状況の分析と小児慢性特定疾病への影響に関する研究」 (盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策は、慢性疾病を抱える子どもたちに対する国の医療費等支援施策である。令和元年度には762疾病が対象となっている。子どもに対する医療費助成制度は、市町村事業として行われる子ども医療費助成等、他の類似する施策が並列していることもあり、小児慢性特定疾病の利用状況は、他の医療費助成の影響があると考えられている。しかし公費医療の実態の把握は難しく、その実状は明らかではない。

本研究は、神奈川県および県下 33 市町村ならびに神奈川県国民健康保険団体連合会の協力の下、国民健康保険における診療報酬明細書(レセプト)データの解析を行い、小児慢性特定疾病の利用率に最も大きな影響を与える可能性があると考えられた、子ども医療費助成の利用状況に関する分析を行い、小児慢性特定疾病への影響を検討した。平成 25 年から平成 29 年までの間に、子ども医療費助成は年長児の対象年齢拡大に合わせ、年長児において利用率の上昇が認められたが、小児慢性特定疾病の利用状況については、全ての年齢階層において、大きな変化は認められなかった。本研究結果の解釈には、種々の制約があるものの、子ども医療費助成の拡充の小児慢性特定疾病の利用に対する影響は、年長児においては、それ程大きく無いと思われた。

## 分担研究 6

### 「小児慢性特定疾病に対する ICD-10 コード附番に関する検討」(盛一享徳他)

小児慢性特定疾病対策の対象疾病の多くは、患者数の少ない稀少疾病に該当し、病名コードの附番に混乱が生じている。適切な病名コードの附番は、診療録の管理やレセプト請求等において、病名を正しく管理する上で重要な問題となっている。今年度は、令和元年度時点における小児慢性特定疾病の対象疾病に対する ICD-10 コード附番および一般財団法人医療情報システム開発センター(MEDIS)標準病名との対応の検討を行った。

MEDIS が提供している ICD-10 対応標準病名マスタを利用し、MEDIS 標準病名との比較検討を行ったところ、標準病名マスタに多くの疾病が追加されており、標準病名が小児慢性特定疾病と未対応であると思われた疾病が、全 819 疾病中 23 疾病(2.8%)まで減少していた。

今回の検証では、小児慢性特定疾病への ICD-10 コード付番と合わせて、対応する MEDIS 標準病名およびレセ電算コードを明示した。本コード表を利用することで、レセプトデータにおける傷病名の利用コードの集約化を期待する。今後も小児慢性特定疾病のコード化を継続し、実務利用が可能となるよう情報提供してゆきたい。

## 分担研究 7

### 「小児慢性特定疾病指定医の研修プログラム(e-learning)の構築及び運用の検討」(盛一享徳)

小児慢性特定疾病情報室では、ウェブサイトを利用した小児慢性特定疾病指定医向けの e-learning プログラムで、制度全般に関する内容ならびに対象疾病に固有の事情を踏まえた内容の講義を用意している。対象疾病に関する研修講義及び評価用試験問題等は、担当する専門学会の下で作成されている。

平成 31 年度(令和元年度)に利用している実

施主体は、令和2年3月31日時点で109実施主体、全体の87.2%となった。令和元年7月に対象疾病の追加および既対象疾病の疾患群移動等が行われ、これらの制度改正に合わせサイト内の研修用コンテンツの追加・改訂を行った。

当該 e-learning サイトを利用する実施主体は年々増加し、また、令和2年4月以降、例年この時期に中核市へ昇格する実施主体に加え、児童相談所設置市として新たに参加を予定している実施主体も存在する。今後も、広く利活用できるよう、更なるコンテンツの改良、利用方法の検討を続けていきたい。

### 分担研究8

#### 「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイトの利用状況と情報発信のあり方に関する検討」(盛一幸徳)

「小児慢性特定疾病情報センター」ポータルウェブサイト(<https://www.shouman.jp>)は、厚生労働省小児慢性特定疾病情報管理事業により、2015年1月から本格運用を開始し、今年度で5年目となる。小児慢性特定疾病児童等の治療・療養生活の改善に資する情報の一元化を図り、疾患概要や診断の手引きのほか、各種相談窓口・支援団体等に関し、掲載情報を随時更新・拡充するとともに、問い合わせフォームを通じ関係各所からの問い合わせ対応を行っている。

今年度は、2019年7月の改正で対象疾患が拡大、800超(包括病名含む)の対象疾病に関する概要や診断の手引き、医療意見書の作成・保守を行った。

ポータルウェブサイトのアクセス数は年々増加傾向にあり、2019年度は約472万件で、1日当たりの平均アクセス数は1万2千件を超えた。端末種別アクセス数については、スマートデバイスからのアクセス数が7割を超え、昨年より一層増加していることが明らかになった。患者やその家族、医療従事者、行政関係者など、国民全般か

ら幅広く閲覧されていることが推察され、当該ウェブサイトは情報発信手段として有益であると思われる。

今後も引き続き、情報をより充実させ、より多くの国民に向けて、最新かつ正確な情報発信を行いたい。

### 分担研究9

#### 「慢性疾病を有する子どものQOL及び社会支援等に関する実態調査」(掛江直子)

医療技術の向上により慢性疾病を有する子どもの長期生存が可能となり、1990年頃より患児の心理・社会的問題が着目されるようになった。2015年、厚生労働省は、小児慢性特定疾病対策において児への支援のあり方として医療費助成に加え、地域における自立支援の充実を目標に定めた。さらに、その基本方針において、児童等及びその家族のニーズを踏まえた支援の提供を目的として、患児の就労状況や生活実態の把握をはじめ、療養生活、自立支援、家族支援等、疾病児童等の健全な育成に資する調査及び研究の実施及び充実に努めるとした。

本分担研究では、この基本方針を受け、小児慢性特定疾病児童とその保護者を対象とし、全国の94実施主体の協力を得て、2018年2月から3月にかけて「慢性疾病を有する子どものQOLおよび社会支援等に関する実態調査」を行い、2017年の生活実態の把握を試みた。また、翌年2019年1月から3月にかけて、全国110実施主体の協力を得て、同様の第2回調査を行い、2018年の生活実態と経年変化等を含めて把握することとした。

結果、患児および保護者に関する回答は、第1回調査(平成29年度)では、8,457件あった。これを、回答当時に受けていた社会支援の内容と、患児およびその保護者のQOL等の関連について解析を行った。第2回調査(平成30年度)は、6,246件の回答が得られた。第1回、第2回調査の両方に回答があったのは534件であった。本調査の解析結果より、望まれる支援の内容は、患児の病状

や年齢によって異なることが示唆された。また、慢性疾病を有する子どもの QOL と学校病院間の連携についての保護者の捉え方には関連が認められることが明らかとなった。これらのことから、個々の患児ならびにその家族の状況に応じた支援策の検討が重要であると考えます。

#### D. 考察

本年度は、平成 27 年 1 月 1 日に制度改正された小児慢性特定疾病対策と同時に新制度へ移行された小児慢性特定疾病児童等登録データベースの、令和 2 年 3 月末日までの登録状況を集計分析するとともに、実施主体による運用の差異を調査した。小児慢性特定疾病児童等データベースは、患児の治療状況や病状を横断的に把握し得るデータとしてだけでなく、小児期から成人期へ向けての縦断データとしての利活用および難病対策など他の医療情報データベースとの連携を期待されており、そのための対象疾病のコード化等、実践基盤の整備を引き続き行っていく計画である。また、慢性疾病を抱えて成長する子どもたちの現状を踏まえた小児慢性特定疾病対策の在り方の検討につなげるために、小児慢性特定疾病の医療意見書の情報項目について、国際生活機能分類のコードによるコーディングを行い、医療意見書を用いた生活機能の分類の可能性を検討した。さらに、医療経済評価の考え方の小児医療への導入の試みとして、ビッグデータを用い、川崎病の治療法における費用対効果の分析を行った。小児医療の公費負担の状況を把握するために、診療報酬明細書データを利用して、子ども医療費助成に関し、その利用状況と小児慢性特定疾病医療費助成への影響を分析した。また、患者実態調査より得られた患児とその家族の回答データから、患児の生活の質に関連する項目や求められる社会支援について分析した。国民への幅広い

情報提供を目的とし、平成 27 年 1 月 1 日の制度改正時より運用しているポータルサイトおよび指定医研修用 e-learning サイトの利用状況の分析を行った。

#### E. 結論

当該研究班は、小児慢性特定疾病を抱える子どもの登録数やその診断・治療等の状況を把握し、専門的な観点からそれらを分析し、結果を難治性疾患等政策に資する資料および当該事業の適性化のための基礎データとして、実施主体および厚生労働省に対して提供するという役割を担っている。

今後も、日本小児科学会をはじめとする各小児慢性疾患関連学会等と密接に連携し、当該事業の適正運用に資する情報の提供および疾患研究の更なる推進に努めていきたい。