

## 小児慢性特定疾患治療研究事業（慢性呼吸器疾患）の非継続症例の経過に関する実態調査

竹原 健二 国立成育医療研究センター研究所成育政策科学研究部研究員

**研究要旨：**2008 年度には小児慢性特定疾患治療研究事業に登録されたが、翌 2009 年度には登録されなかった慢性呼吸器疾患群の患児 521 人の経過について、2008 年度に登録された医療機関に対して質問票調査を実施した。返送数は 252 通（回収率 48.4%）、有効回答数は 242 通であった。非継続症例の経過としては、治癒（4.6%）、寛解（9.3%）、軽快（47.7%）と改善傾向が認められ、当該事業が患児に対する適切な医療提供、良好な予後に寄与したと推察される。その一方で、死亡が 17.2%を占めていることも明らかになった。

小慢事業のデータベース上では非継続症例と判断されたが、調査対象となった患児の主治医により、その患児は登録を継続しているという回答が得られた者は 67 人（27.6%）であった。しかし、その 67 人についてデータベース上を確認してみると、2009 年度に継続的に申請がされている者はわずか 4 人とどまった。本研究で得られた結果をもとに、来年度以降の非継続症例調査のあり方や実施方法について再検討が必要であることが示唆された。

見出し語：小児慢性特定疾患治療研究事業、慢性呼吸器疾患、非継続症例、転帰

### 研究協力者：

加藤忠明（国立成育医療研究センター研究所）  
掛江直子（国立成育医療研究センター研究所）  
原田正平（国立成育医療研究センター研究所）  
荒川浩一（群馬大学大学院小児科学分野）  
松井 陽（国立成育医療研究センター）

ンター内のサーバーにデータベース（以下、小慢 DB）として蓄積されている。

小慢事業では、治癒、死亡等で受給資格がなくなり、医療受診券が返還される場合、受給者の転帰を各実施主体において小慢事業台帳に記入することになっている。しかし、実際にはそうした転帰に関するデータは厚生労働省に提出されておらず、小慢事業に登録されなくなった患児（以下、非継続症例）の経過の把握がおこなわれていない。小慢事業による医療給付の効果を検証するためにも、非継続症例の転帰を把握することは不可欠である。

### A. 研究目的

1974 年に制度化、そして、2005 年度に法制化された小児慢性特定疾患治療研究事業（以下、小慢事業）は、対象疾患の研究に資する医療給付等をおこなう事業である<sup>1)</sup>。小慢事業では、実施主体である地方自治体から、厚生労働省に医療意見書の記載内容が氏名や連絡先などの個人情報削除した形で報告されている。厚生労働省に提出されたデータは、電子データとして国立成育医療研究セ

非継続症例の転帰を把握することの意義は、小慢事業の効果の検証に留まらず、小慢 DB における患児のデータの正確な管理にも役立てられることが期待されている。小慢

DB には、患児の氏名が登録されていないため、申請された実施主体や受給者番号などの項目から、1人の患児に対して固有の ID を付与してデータの管理および研究への活用を進めている。ところが、患児の中には、登録期間中の転居などによって、申請する実施主体が変更になるケースや、確定診断により登録時の疾患名が変更になるケースが少なくない。また、実施主体によっては、毎年、同一患児に異なる受給者番号を割り当てており、小慢 DB 内ではそうした患児のデータの管理が難しくなっている。そこで、上記のような原因によって、小慢 DB 上では誤って非継続症例とみなされてしまった患児のデータを修正することは小慢 DB の精度向上のためには重要な課題であると言える。

当研究班では、こうした、非継続症例の経過の把握と、小慢 DB における患児のデータの正確な管理につなげる方策を検討することを目的とした、非継続症例への質問紙調査の実施を重要な取り組みの一つと位置付けている。これまで、先天性代謝異常<sup>2)</sup>、神経・筋疾患<sup>3)</sup>、慢性腎疾患<sup>3)</sup>、慢性呼吸器疾患<sup>4)</sup>、慢性消化器疾患<sup>5)</sup>、糖尿病<sup>5)</sup>、膠原病<sup>6)</sup>、内分泌疾患<sup>7)</sup>の計 8 つの疾患群に対して非継続症例に対する調査が実施されてきた。本研究の調査対象である慢性呼吸器疾患は、2005 年に引き続き二度目の非継続症例調査となるため、その結果の比較・検討もおこなった。

## B. 研究の対象と方法

本研究では、小慢事業のデータベース（小慢 DB）に入力されているデータを用いた。小慢 DB には全国約 100 か所の地方自治体（実施主体）のうち、厚生労働省に報告をおこなった実施主体から提供されたデータが蓄積されている。本研究では、2011 年 11 月までに 2008、2009 年度の両年度の報告がおこなわれた 94 か所の実施主体の患児のデータを用いた。

小慢 DB では、初めて小慢 DB に登録された患児に対して、医療意見書に記載された申請した実施主体、保健所番号、受給者番号などの情報をもとに、小慢 DB 上で患児を識別する ID（照合 ID）を付与している。その患児が翌年度も継続して小慢事業に申請をし、小慢 DB に登録された場合、同じ情報（申請した実施主体、保健所番号、受給者番号など）の医療意見書であれば、同一患児と認識され、前年度と同じ照合 ID が与えられる仕組みとなっている。この仕組みにより、連続した 2 年度における登録状況を分析したときに、後の年度に前の年度に存在する照合 ID と同じ値がない場合、その患児は非継続症例として扱われる。従来はこの照合 ID を用い、小慢 DB から機械的に非継続症例を抽出してきた。

ところが、これまでの非継続症例の調査研究では、実際は継続症例であるにも関わらず非継続症例として抽出され、二次調査で継続症例であることが判明する割合が高かった。そこで、本研究では非継続症例の抽出精度を高めるため、2008 年度、2009 年度の両年度のデータについて、照合 ID に加え、申請した実施主体、受給者番号、性別、生年月日、登録された疾患の ICD、治療医療機関などの項目を用いて、Microsoft Excel 2010 の関数機能やソート、フィルター機能、研究者による目視により、手作業で非継続症例の抽出をおこなった。

2008 年度に小慢事業（慢性呼吸器疾患）に申請、承認され、小慢 DB に登録された 2,150 人のうち、医療意見書の内容を研究の資料とすることについて同意書を提出した者は 2,148 人であった。そのうち、上記抽出手順により、2009 年度に非継続症例となったと判別された 521 人を本研究の対象（以下、対象者）とした。

対象者について、2008 年度の登録時の担当医に質問票調査をおこなった。調査は 2011 年 11 月に実施された。対象者に関して、小

慢DBのデータを用いて受診している医療機関を特定し、小慢事業の受給者番号や疾患群、疾患名、生年月日、性別等を記入した質問票を送付した。質問項目として、「対象者の経過」と「2009年度の小慢事業への申請・承認の状況」を尋ねた。対象者が実際には2009年度も小慢事業に承認されていると回答が得られた場合は、申請した「自治体名」、「疾患名」、「受給者番号」についても回答を依頼した。対象者が死亡している場合は、「死亡年月」と「死亡した場所」、「死亡に至るまでの経過および原因」に関して回答を求めた。

データ処理および解析には Microsoft Excel 2010 および SPSS 19.0J を用いた。なお、本研究は独立行政法人国立成育医療研究センターの倫理審査委員会の承認（受付番号：514）を得た上で実施された。

## C. 研究結果

521人分の質問票を発送し、宛先不明で返送されたものはなかったため、521通すべての質問票が有効と判断した。2012年2月9日までに返送された質問票は252通（回収率48.4%）であった。送付した質問票から、対象となる患児が特定できなかったという回答が得られた10通を除いた242通を分析対象とした。

### 1) 小慢事業への申請・承認の状況

小慢DB上では非継続症例とされたが、質問票によって、2009年度の小慢事業に継続申請していると回答が得られた者は67人（27.7%）、継続していないという回答が得られた者は151人（62.4%）、登録状況が不明であると回答が得られた者は24人（9.9%）であった。得られた回答の内訳およびその患児の2009年度以降の小慢事業への登録状況については、図1にまとめた。

継続申請していると回答が得られた67人

のうち、申請した実施主体のある都道府県、疾患名、2009年度の受給者番号の3項目すべてに記載があった者は33人（49.3%）、3項目のいずれかに記載がなかった者は34人（50.7%）であった。2008年度に小慢データベースに登録されていた受給者番号と、主治医が回答をした2009年度の受給者番号が同じであった者は29人（43.3%）であった。6人（9.0%）は性別や生年月日などから同一の対象者であると判断できるにもかかわらず、何らかの理由で受給者番号が変更されていた。

2009年度には小慢事業を継続していない、もしくは、登録状況は不明であるという回答が得られた175人のうち、昭和63年（1988年）、64年および平成元年（1989年）生まれだった者、すなわち、2009年度には20歳になったと考えられる者は10人（5.7%）であり、小慢事業の年齢要件のために非継続になったと判断された。年齢要件で非継続症例となった者の最終的な転帰は軽快が2人、不変が7人、不明が1人であった。

2009年度の登録状況が不明であると回答が得られた24人の内訳について、自由記述欄に書かれていた不明の主な理由をもとに分類をした。その結果、対象者の転居や転院が11人（45.8%）、すでに通院もしくは治療を中断しているが4人（16.7%）、理由はわからないなど、その他の理由を記載した者が7人（29.2%）、理由に回答がなかった者は3人（12.5%）であった。

### 2) 2009年度も継続申請していると回答が得られた者に関する小慢DBとの照合

本研究における242件の有効回答のうち、67件（27.7%）は2009年度も小慢事業への申請・登録をおこなっている、という回答であった。この67人の患児について、小慢DBに2009年度以降のデータが登録されているかどうかを、①主治医が回答をした実施主体

や受給者番号を中心に照合、②患児の性別および生年月日から照合、という2つの方法によって確認した。その結果、67人の患児のうち、小慢DB上で2009年度に登録が確認できた者はわずか4人(6.0%)にとどまった。これら4人については、同一実施主体に継続して申請したにもかかわらず受給者番号が変更されたケースが2人、申請先の実施主体が変更になったケースが2人であった。また、2009年度には登録が確認できなかったものの、2010年度には登録が確認できた者は13人(20.6%)であった。受給者番号が変更されているという回答のあった6人中5人については、その受給者番号は他の実施主体も含めて、慢性呼吸器疾患群のデータとして、小慢DB上に存在しなかった。

### 3) 2008年度に小慢事業(慢性呼吸器疾患)に登録された患児の転帰

慢性呼吸器疾患群全体と、登録者数が多い気管支喘息および慢性肺疾患、気管狭窄に関して、今回の調査で回答が得られた転帰を表1にまとめた。2009年度には小慢事業に申請・登録をしていない、と回答が得られた慢性呼吸器疾患群全体の患児151人の転帰としては、治癒が7人(4.6%)、寛解が14人(9.3%)、軽快が72人(47.7%)、不変が22人(14.6%)、再燃が0人(0%)、悪化が1人(0.7%)、死亡が26人(17.2%)、判定不能が3人(2.0%)、不明は6人(4.0%)であった。

気管支喘息の非継続症例62人では、軽快が40人(64.5%)と大半を占め、次いで寛解、不変が8人(12.9%)であった。治癒および死亡は0人であった。慢性肺疾患の非継続症例55人では、軽快が23人(41.8%)と最も多く、死亡は12人(21.8%)に達した。気管狭窄の非継続症例24人では、死亡が12人(50.0%)と最も多く、寛解が7人(29.2%)、不変が3人(12.5%)と続いた。

死亡症例については、2009年度以降に死亡

が確認されているという回答を得られたのは27人であり、その中には2009年度も小慢事業への登録が継続されている者が1人含まれていたため、本報告における死亡症例は26人とした。疾患ごとの死亡症例数を見てみると、慢性肺疾患と気管狭窄がそれぞれ12人、先天性中枢性低換気症候群と気管支拡張症がそれぞれ1人であった。

### D. 考察

慢性呼吸器疾患群の非継続症例においては、軽快した患児が47.7%、不変であった患児が14.6%であり、やや改善、もしくは状態を維持している患児が全体の60%以上を占めた。治癒した患児が4.6%、寛解した患児が9.3%、悪化および再燃した患児は全体の0.7%にとどまり、患児の状態が大きく変化するケースはそれほど多くないことがうかがわれた。しかし、本研究によって、非継続症例と判明した中の17.2%となる26人の死亡が明らかになった。軽快や不変が多いという実態は、2006年度の慢性呼吸器疾患群の非継続症例に対する調査と同様であったものの、死亡者の割合が2006年度の対象ではわずか6.9%であったものに対し、今回の調査では17.2%と大幅に増えていた。

非継続症例となった理由を見てみると、年齢要件により非継続となった者は10人(5.7%)であり、そのうち最終的な転帰は2人が軽快、7人は不変であった。このことは、年齢要件によって小慢事業に登録できなくなっても、実際には治療が必要な状態であると考えられ、小児慢性疾患を抱えて「キャリアオーバー」をした成人患者への行政的・財政的なサポート体制が重要であることを示している。

小慢DBが抱える今後の課題の一つに、同一患児が小慢事業に継続的に登録をされている場合、それをいかに的確に把握し、経年的に結合していくのかということが挙げら

れる。本研究においても、主治医の回答により、242 件のうち、67 件 (27.7%) が翌年度も小慢事業への申請・登録をおこなっている、という回答が得られた。しかし、小慢 DB 上で 2009 年度に登録が確認できたケースは 4 件のみであった。これらのケースに対して、受給者番号だけでなく、性別や生年月日による照合もおこなったため、転居などによって申請先の実施主体が変更になったことが理由であるとは考えにくい。

これまで、非継続症例の調査を実施することで、実際には継続して登録されている症例が把握でき、小慢 DB のデータの修正・確認に役立てられると考えられてきた。しかし、本研究の結果からは、主治医の回答だけでは対象患児が実際に登録されているかどうかを、小慢 DB と照合・修正することは難しいことが示された。現時点では、この原因が明らかになっていないため、原因究明を進めるとともに、今後の非継続症例に対する調査の意義について、再検討が必要であると考えられる。

最後に、本研究では、小慢 DB から非継続症例の対象者を抽出する際に、これまでおこなってきた非継続症例に対する調査のように、照合 ID をベースにした方法ではなく、Microsoft Excel の関数機能やソート、フィルター機能などを活用した方法を採用した。本研究では、有効回答者数 242 件のうち、実際には 2009 年度も登録が継続されている者は 4 件 (1.7%) に留まった。これら 4 件はいずれも実施主体や受給者番号が変更され、同一患児であるかどうかの見極めが難しいケースであったことから、本研究で用いた抽出方法は的確に非継続症例が抽出できる可能性があることが示されたと言える。また、非継続症例の抽出を進める作業の中で、小慢 DB の中で照合 ID を付与するプログラムに不具合を発見するなどの副次的な成果を挙げることもつながった。その一方で、この抽出

方法はこれまでの機械的な方法に比べ、非常に多くの時間と労力を要する方法であるという欠点もある。今後は、人間による確認が必要なプロセスと、機械的に進めることがより確実なプロセスに整理した上で、小慢 DB を支えるプログラム開発に活かしていきたい。

## 謝辞

研究にご協力いただきました医療機関および担当医師の皆様へ深謝いたします。

## 引用・参考文献

- 1) 倉辻忠俊監修. 小児慢性特定疾患早見表 (登録管理用) -平成 19 年度版-. 社会福祉法人恩賜財団母子愛育会. 2008.
- 2) 加藤忠明、原田正平、掛江直子、他. 小児慢性特定疾患治療研究事業 (先天性代謝異常、および神経・筋疾患) における非継続症例の経過に関する実態調査. 小児科臨床 61(5), 1063-1069, 2008.
- 3) 加藤忠明、原田正平、掛江直子、他. 小児慢性特定疾患治療研究事業に再登録されなかった慢性腎疾患患児の経過. 小児保健研究 68(4), 489-492, 2009.
- 4) 加藤忠明、原田正平、掛江直子、他. 小児慢性特定疾患治療研究事業に再登録されなかった慢性呼吸器疾患患児の経過. 小児保健研究 68(5), 595-598, 2009.
- 5) 加藤忠明、原田正平、安藤亜希、福田清香、掛江直子、顧艶紅、佐藤ゆき、竹原健二、藤本純一郎. 小児慢性特定疾患治療研究事業 (慢性腎疾患、慢性呼吸器疾患、糖尿病、慢性消化器疾患) の非継続症例の経過に関する実態調査. 平成 20 年度厚生労働科学研究 (子ども家庭総合研究事業) 分担研究報告書「法制化後の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」. 39-52, 2009.
- 6) 加藤忠明、武井修治、原田正平、掛江直子、

顧艶紅、竹原健二、藤本純一郎. 小児慢性特定疾患治療研究事業（膠原病）の非継続症例の経過に関する実態調査. 平成 21 年度厚生労働科学研究（子ども家庭総合研究事業）分担研究報告書「法制化後の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」. 43-47, 2010.

横谷進、鈴木滋、松井陽. 小児慢性特定疾患治療研究事業（内分泌疾患）の非継続症例の経過に関する実態調査. 平成 22 年度厚生労働科学研究（成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業）総括・分担研究報告書「小児慢性特定疾患の登録・管理・解析・情報提供に関する研究」. 41-47, 2011.

7) 竹原健二、加藤忠明、掛江直子、原田正平、

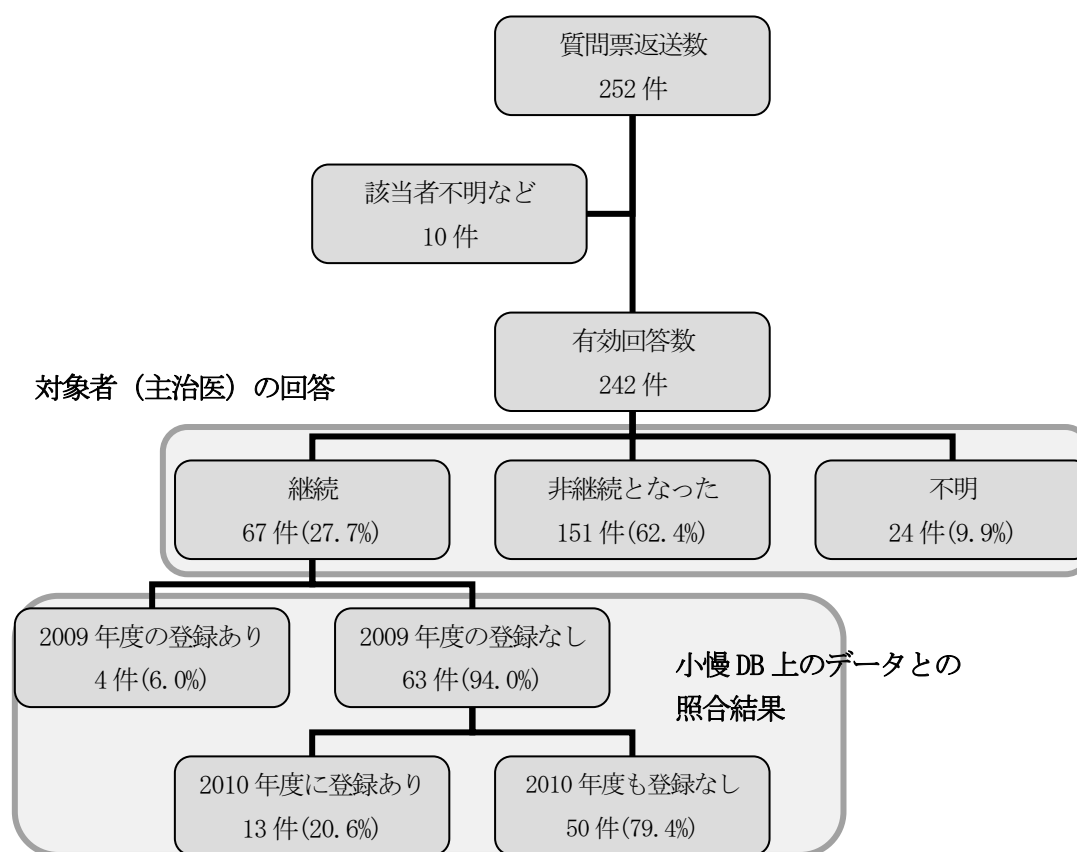


図 1. 質問票が返送された患児に関する 2009 年度以降の小慢事業への登録状況

表1 2008年度小児慢性特定疾患治療研究事業の非継続症例の経過(慢性呼吸器疾患群全体と、主な慢性呼吸器疾患)

経過	慢性呼吸器疾患群全体		気管支喘息		慢性肺疾患		気管狭窄	
	n	%	n	%	n	%	n	%
治癒	7	(4.6%)	0	(0.0%)	5	(9.1%)	2	(8.3%)
寛解	14	(9.3%)	8	(12.9%)	4	(7.3%)	0	(0.0%)
軽快	72	(47.7%)	40	(64.5%)	23	(41.8%)	7	(29.2%)
不変	22	(14.6%)	8	(12.9%)	7	(12.7%)	3	(12.5%)
再燃	0	(0.0%)	0	(0.0%)	0	(0.0%)	0	(0.0%)
悪化	1	(0.7%)	1	(1.6%)	0	(0.0%)	0	(0.0%)
死亡	26	(17.2%)	0	(0.0%)	12	(21.8%)	12	(50.0%)
判定不能	3	(2.0%)	3	(4.8%)	0	(0.0%)	0	(0.0%)
不明	6	(4.0%)	2	(3.2%)	4	(7.3%)	0	(0.0%)
合計	151		62		55		24	