

<レジストリ名>

「小児慢性特定疾患治療研究事業登録データベース(1998-2014)」

「小児慢性特定疾病児童等データベース(2015-)」

(略称:小慢登録データ)

<本文>

【小児慢性特定疾患治療研究事業の設立】

1968(昭和 43)年に先天代謝異常症に対して医療給付事業が開始され、以後疾患別に医療給付事業が追加施行された。1974(昭和 49)年に疾患別の各事業を整理統合し、新たに対象疾患を加え全 9 疾患群からなる小児慢性特定疾患治療研究事業が始まった。当該事業は特定の疾患について研究を推進し、その医療の確立と普及を図り、合わせて患者家族の医療費負担を軽減する事業として位置づけられた。その後も対象疾患の追加、一部疾患の入院から外来通院も含めた医療費助成範囲の拡大、対象年齢の 18 歳未満から 20 歳未満への延長等の改正が行われ、1990(平成 2)年には全 10 疾患群へ対象拡大が行われた。しかしながら、当時実質的には医療費助成のみが行われている状況で、疾患研究の推進は必ずしも図られてはいなかった。小児慢性特定疾患の対象疾患患者の生命予後は、医療技術の向上等により、事業設立当初に比べ改善されてきた反面、療養が長期化し患者・家族の負担が増加したこと、また厚生事務次官通知に基づく補助金事業であったため、昨今の予算縮小の背景から将来的に安定的な制度とすることが望まれていた。事業を法律上位置づける努力がなされ、児童福祉法の一部改正が成立し、2005(平成 17)年に新たな対象疾病を加えて全 11 疾患群に拡大されて小児慢性特定疾患治療研究事業は法制化された。

【小児慢性特定疾患治療研究事業から小児慢性特定疾病対策へ】

事業は 2005 年の法制化されたが、予算面では国の予算の範囲内に限って補助することが出来るという裁量経費が財源となっており、毎年増額する補助金に対して予算が不足する状況となっていた。このため難病制度改正に呼応する形で、本制度の改正が検討され、2013（平成 25）年に「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（報告）」が取りまとめられ、① 公平で安定的な医療費助成の仕組みの構築、② 研究の推進と医療の質の向上、③ 慢性疾患児の特性を踏まえた健全育成・社会参加の促進、地域関係者が一体となった自立支援の充実、の三つの柱が厚生労働省社会保障審議会児童部会のもとで、小児慢性特定疾患患児への支援の在り方に関する専門委員会により示された。この報告をもとに児童福祉法の一部改正が行われ、2015（平成 27）年 1 月 1 日より新たに小児慢性特定疾病対策として現行制度が施行された。財源は義務的経費となり安定化し、対象疾病はこれまでの 11 疾患群 514 疾病から、14 疾患群 704 疾病へ拡大され、自立支援事業等の付帯事業の充実も図られた。2017（平成 29）年には対象疾病として 18 疾病が追加、2018（平成 30）年 4 月 1 日からは新たに 2 疾患群 35 疾病が追加された。2019（令和元）年 7 月 1 日から新規に 6 疾病が追加され、既対象疾病の 1 つの疾患概念が拡大された。令和元年現在、16 疾患群 762 疾病が対象となっている。

【小児慢性特定疾患治療研究事業（1998-2014）における登録体制】

小児慢性特定疾患治療研究事業では、1995（平成 7）年より保健所を窓口として患者（保護者）の申請で行われる事となり、1998（平成 10）年よりその申請登録様式が全国的に統一された。申請書に添付される医師の診断書である小児慢性特定疾患医療意見書（以下、医療意見書）の内容は、コンピュータ入力により登録・管理されることとなった。専用の登録用ソフトウェアが厚生省（当時）より、事業運用を行っている全国の実施主体（都道府県、指定市、中核市）に配布され、申請医師が記載した医療意見書を保健所窓口で受領の後、実施主体で電子化作業を行い、電子媒体を厚生労働省へ送付し、厚生労働省に集められた電子媒体を国立成育医療研究センターにてデータベース化することで全国の登録データを管理していた。2015（平成 27）年 1 月から新制度へ移行するにあたり、医療意見書様式の全面的な見直しが行われたため、上述の専用登録ソフトウェアによる電子化は、2014（平成 26）年までで終了した。

【小児慢性特定疾病対策（2015-）における登録体制】

2015（平成 27）年 1 月以降は、より公平公正な医療費助成を目指すため、それまで疾患群ごとに共通となっていた医療意見書様式を見直し、実施主体における審査会等において対象疾病と診断が妥当であること及び対象基準の状態を満たしていることの記載を求めるため、原則 1 疾患ごとに専用の医用意見書様式とされた。

新しい医療意見書については、国立成育医療研究センターにて一括して電子化する方針となり、2017(平成 29)年より全国の実施主体が国立成育医療研究センターに新様式意見書の写しを送付し、中央にて一括して電子化作業を行う医療意見書登録事業が開始されている。改正前の医療意見書の電子化については、実施主体の担当者等の非専門家が電子化作業を行っていたことから、登録データの精度管理上しばしば問題が生じていた。疾病研究の推進を謳う新制度においては、研究に耐えうるデータ収集を行う目的で、医師が意見書を作成する段階で電子化されることが望ましいとの考えから、今後は医師が医療意見書を作成する際に、登録情報が二次元コード(QR コード)化されて出力されるシステムの普及を目指している。

【二次利用可能な登録データ】

申請時点で同意が成されている場合に限り、研究目的に限り二次利用が可能である。提供されるデータは、氏名や受給者番号等の個人を特定する情報は削除されたものであり、年度毎の提供となる。2014 年以前の旧制度登録データに関しては、おおよそデータベース化が終了している(2014 年については年度途中の制度移行のため 1 年分のデータではない)が、2015 年以降の新様式医療意見書登録データについては、順次電子化作業を実施中である。

現在の登録データの二次利用は、厚生労働省研究班等による研究目的に限られており、小児慢性特定疾患治療研究事業登録データベースについては、小児慢性特定疾病情報センターの二次利用申請のページ(https://www.shouman.jp/research/regist_research)を、小児慢性特定疾病児童等データベースについては、厚生労働省の指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病児童等データベースに関するホームページ(https://www.mhlw.go.jp/stf/nanbyou_teikyo.html)をそれぞれ参照されたい。

レジストリの所有者：厚生労働省

レジストリの管理・運営者：

国立成育医療研究センター(厚生労働省よりの委託事業)

厚生労働省健康局難病対策課

問い合わせ先：

「小児慢性特定疾患治療研究事業登録データベース」について

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

<https://www.shouman.jp/contact/> の問合せフォームを利用

「小児慢性特定疾病児童等データベース」について

厚生労働省健康局難病対策課 第三者提供窓口

e-mail: nanbyo-kenkyu@mhlw.go.jp

【医療意見書】

医療意見書の詳細については下記を参照すること。なお医療意見書の全ての項目が電子化されている訳ではない。

小児慢性特定疾病対策における医療意見書については、以下のウェブサイト参照のこと。

「小児慢性特定疾病情報センター」

<https://www.shouman.jp>

小慢性特定疾患治療研究事業における医療意見書については、上記ウェブサイトにて提供中の下記のファイルを参照のこと。

<https://www.shouman.jp/about/2014/pdf/syorui1-1.pdf>