

小児慢性特定疾病登録データを 利用した研究について

国立成育医療研究センター研究所 小児慢性疾病情報室
盛一 享徳

小児慢性特定疾病指定研究班



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



小児慢性特定疾病情報センター
Information Center for Specific Pediatric Chronic Diseases, Japan



小児慢性疾病委員会

日本小児科学会、日本小児科医会、日本小児保健協会、日本小児血液・がん学会、日本小児腎臓病学会、日本小児呼吸器学会、日本小児アレルギー学会、日本小児循環器学会、日本小児内分泌学会、日本小児リウマチ学会、日本先天代謝異常学会、日本小児神経学会、日本免疫不全・自己炎症学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児期外科系関連学会協議会、日本新生児成育医学会、日本小児遺伝学会、日本小児皮膚科学会、日本小児整形外科学会

小児慢性特定疾病指定研究班

▶ 成育医療からみた小児慢性特定疾病対策のあり方に関する検討

- 国際生活機能分類（ICF）の概念導入の検討
- 国際生活機能分類導入における妥当性の調査
- 医療経済評価の手法を用いた小児慢性特定疾病のあり方の検討
- 医療意見書および診断の手引きの改訂等

▶ 小児慢性特定疾病患者の自立支援等に関する検討

- 生活実態及び社会支援等に関する調査分析
- 成人移行に関する調査分析
- 障害福祉等関連施策・制度に関する患者視点での整理

▶ 小児慢性特定疾病登録データベースのあり方に関する検討

- 登録データベースの設計開発およびデータ精度向上に関する検討
- 対象疾病へのICD-10コード等附番に関する検討
- 他のデータベースとの連携に関する検討

医療意見書の取得内容

新規申請の際に、診断の確からしさを客観的に証明する臨床所見や検査結果等を登録

継続申請の際に、現在の症状や直近の検査結果等申請時点での病態を登録

申請時点での治療内容、社会参加状況、手帳等の取得状況を登録

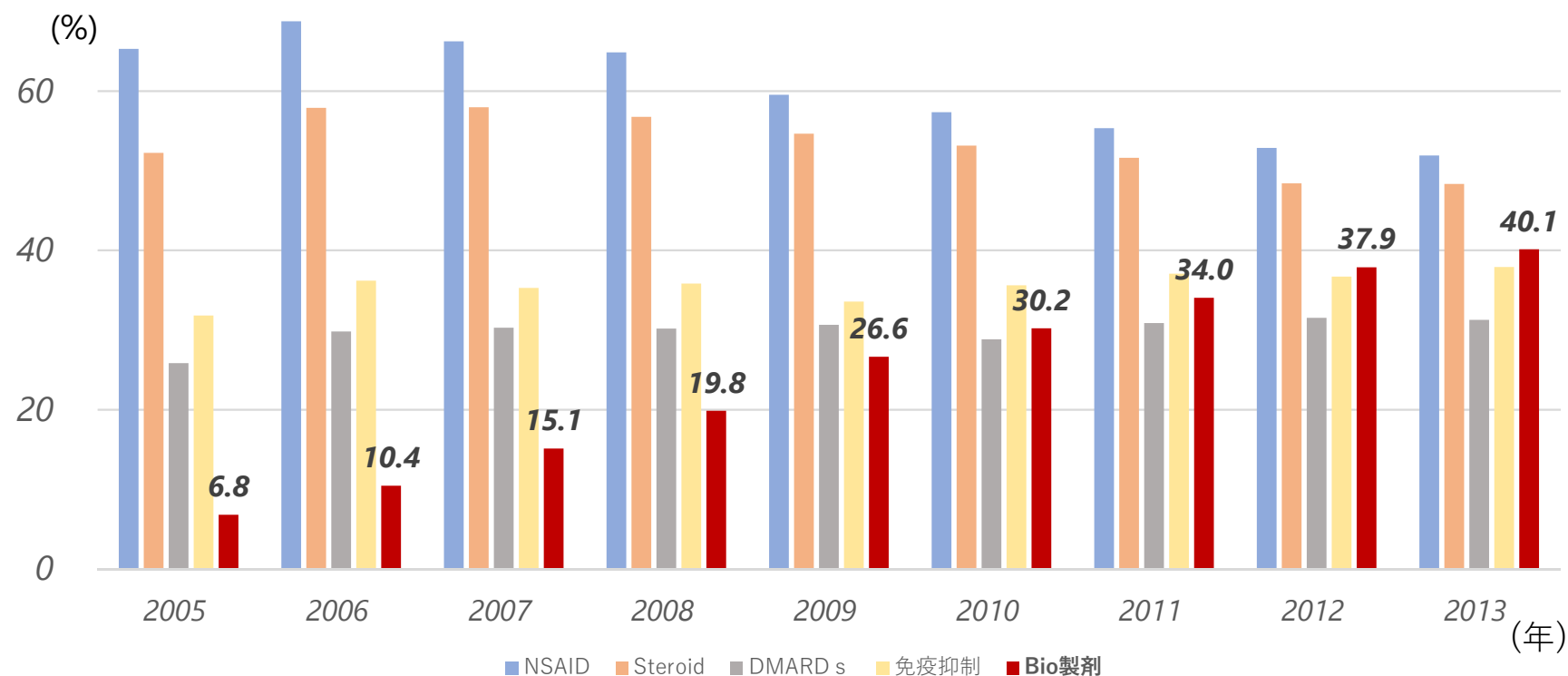
小児慢性特定疾病登録データの特徴

小児慢性特定疾病登録データベースは、
施設単位の調査では把握が難しい、
疾病患者の **長期予後の変化を捉えることが可能**

長期にわたって医療的介入が必要となる疾病や
重症例における登録については、
実施主体間の登録格差が比較的少ない

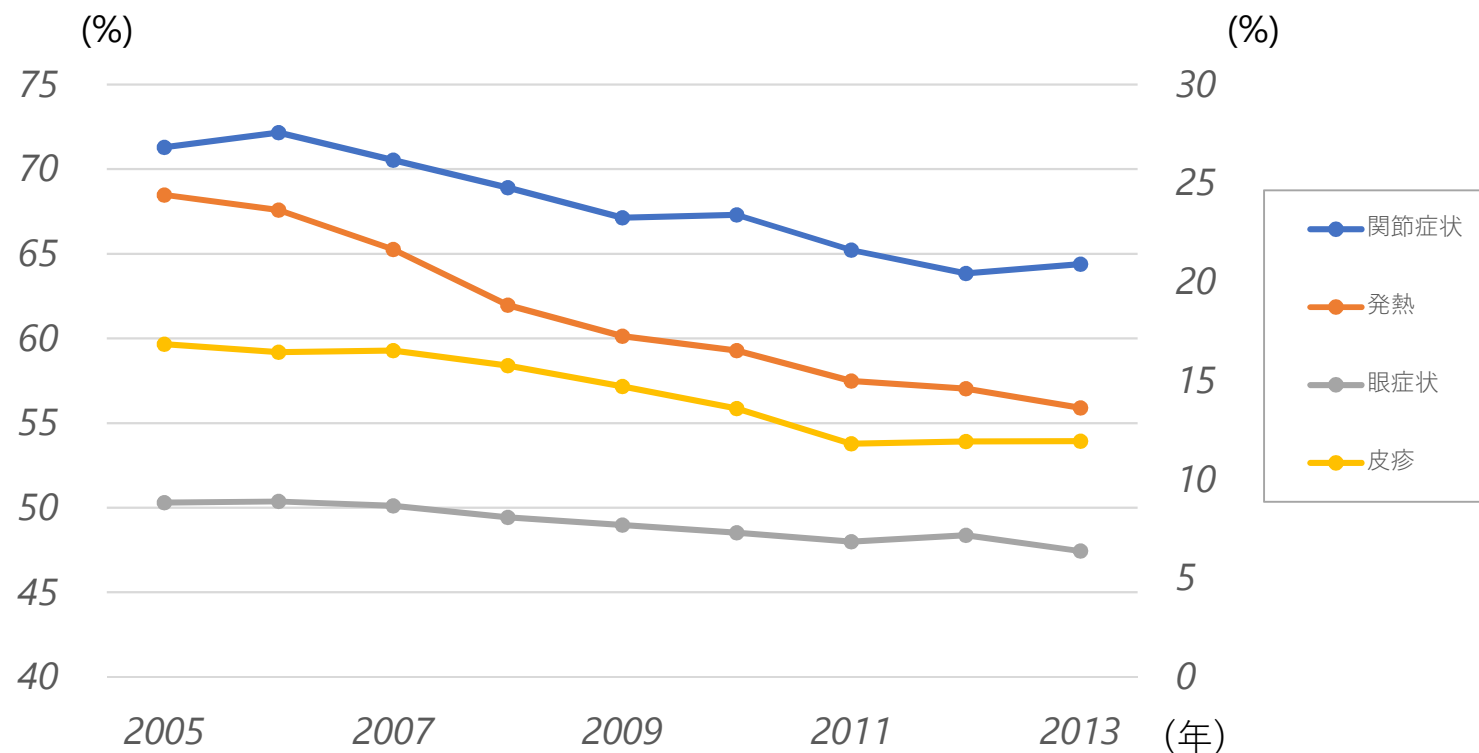
一部の限定的な疾病による調査結果では、
症例の補足率は最大で 50～60% 程度

JIA患者の生物学的製剤の利用率の推移



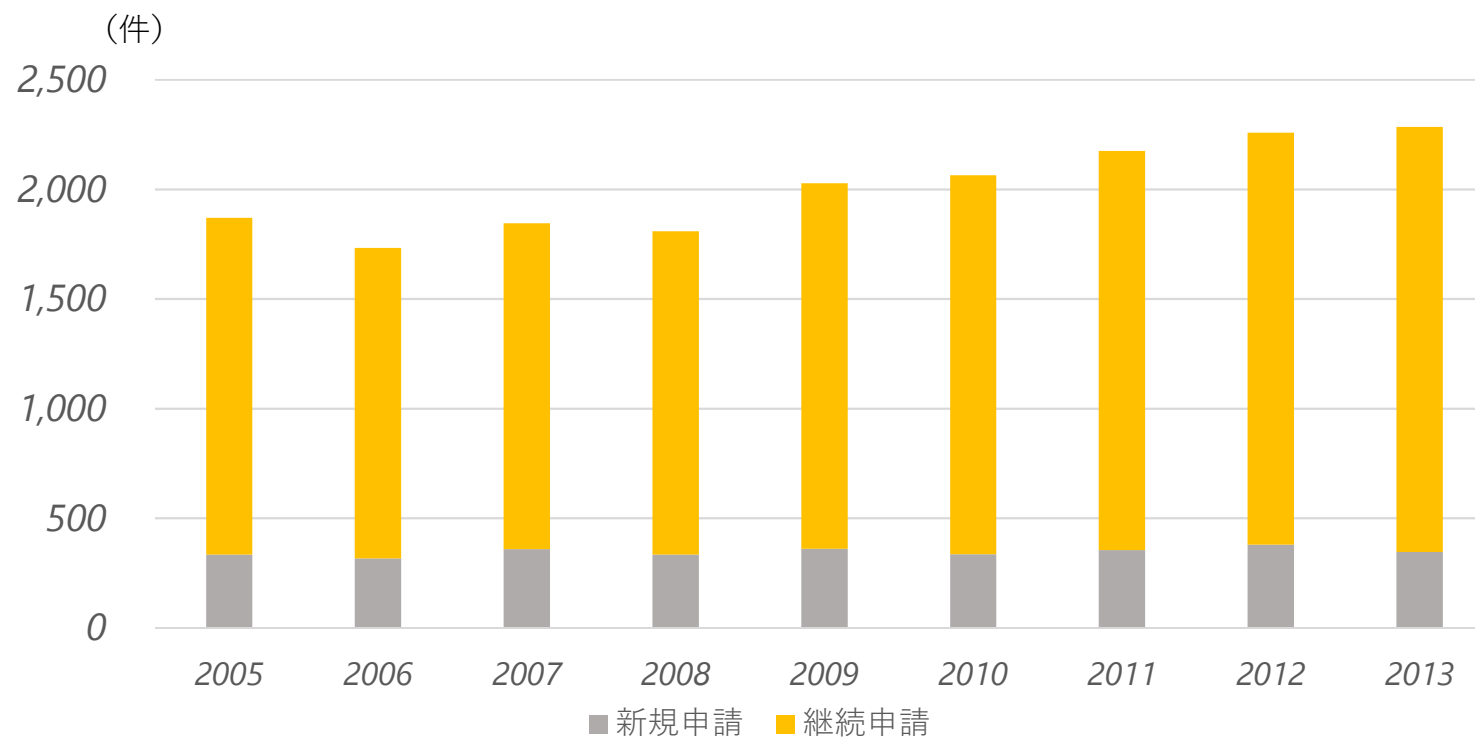
生物学的製剤（Bio製剤）の利用率は年々増加し、
2013年には40%に達した

JIA患者の炎症症状を有する割合の変化



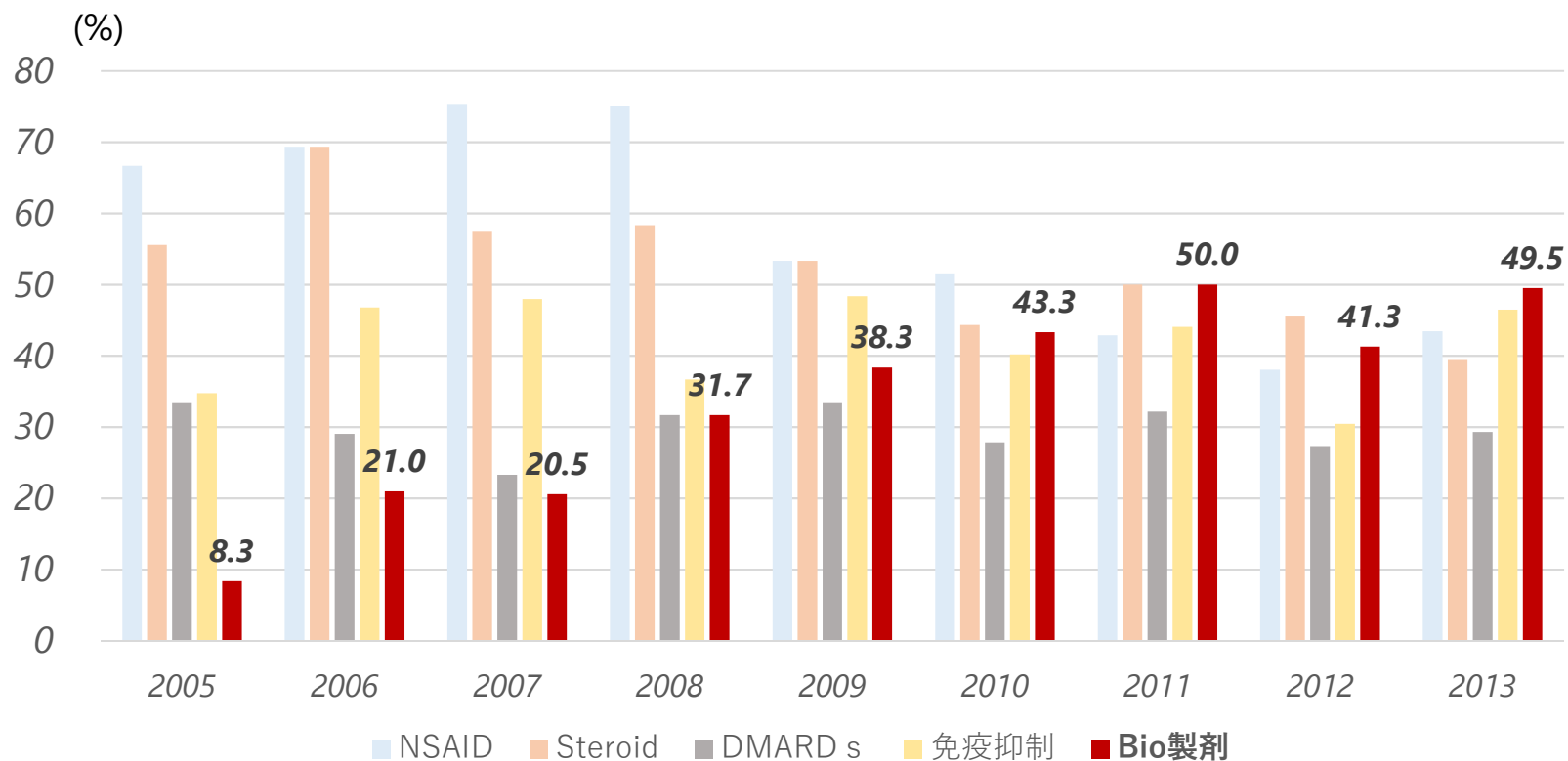
生物学的製剤（Bio製剤）の導入により
炎症状態を有する患者は明らかに減少

JIA患者の申請件数の推移



生物学的製剤（Bio製剤）の導入率の上昇に反し、
継続申請者数の減少が起きない → 無治療寛解に至らない

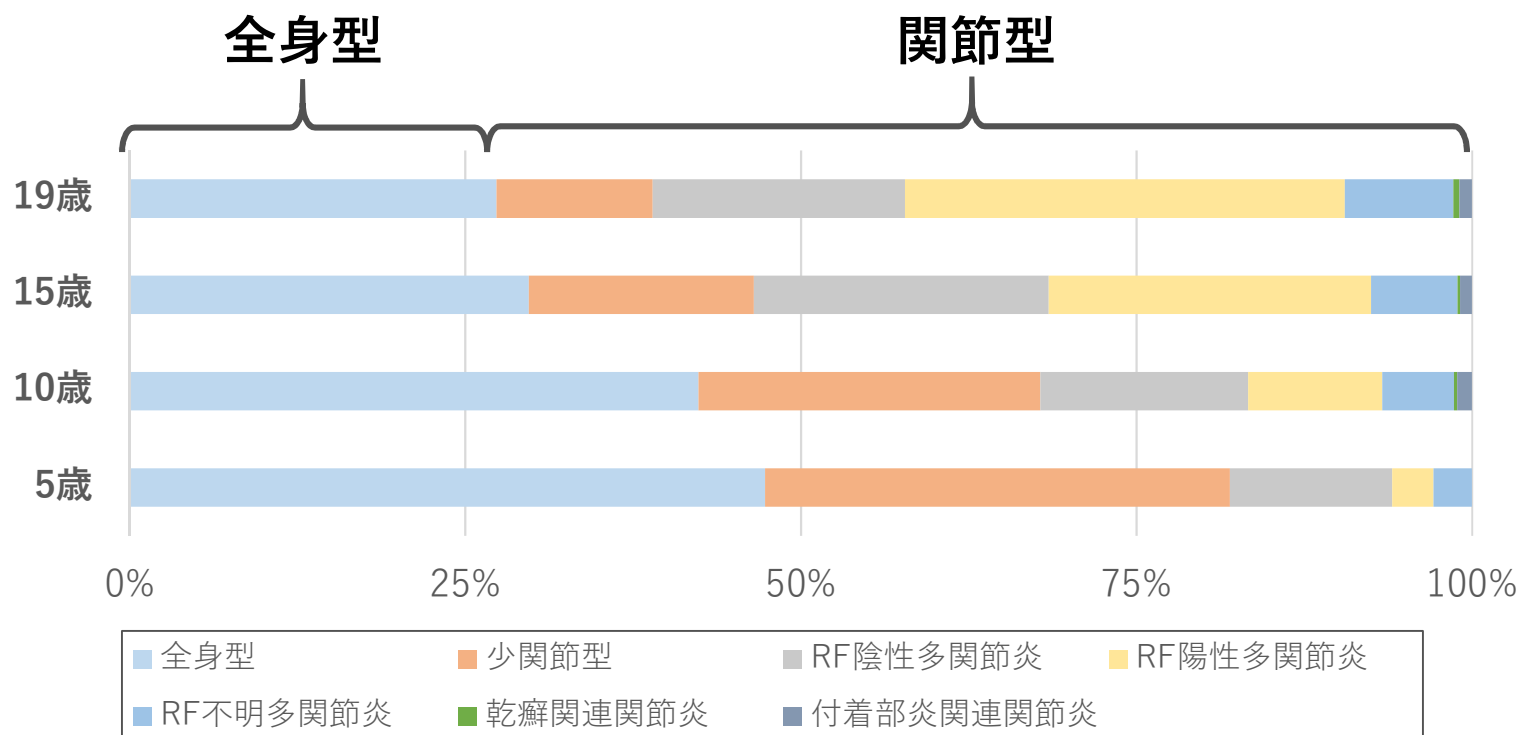
JIA19歳申請者の生物学的製剤の利用率



生物学的製剤（Bio製剤）の導入率が高く多剤併用者が多い

➔ 成人移行する者は重症例が多い

JIA申請者の病型



成人移行する者の 3/4 は「関節型」が占めていた

小児慢性特定疾病登録データベースの特徴

候補変数	単独最大重複件数 (※)
出生都道府県	108,377
生年月日	4,083
性別	552,711
出生体重	11,441
在胎週数	298,211
(在胎週数日数)	2,000

※ 1年分の出生届データにおける検討

登録データ内は5つのキー項目を用いて
確率論的に寄せることが可能

小児慢性特定疾病登録データベースの特徴

対象疾病	Theil index (※)
1 型糖尿病	0.358 ± 0.034
胆道閉鎖症	0.440 ± 0.012
成長ホルモン分泌不全性低身長症	0.376 ± 0.011
IgA 腎症	0.332 ± 0.057
若年性特発性関節炎	0.312 ± 0.011
フェニルケトン尿症	0.380 ± 0.007
気管支喘息	0.763 ± 0.231

※ 3 か年分の結果を平均した参考値

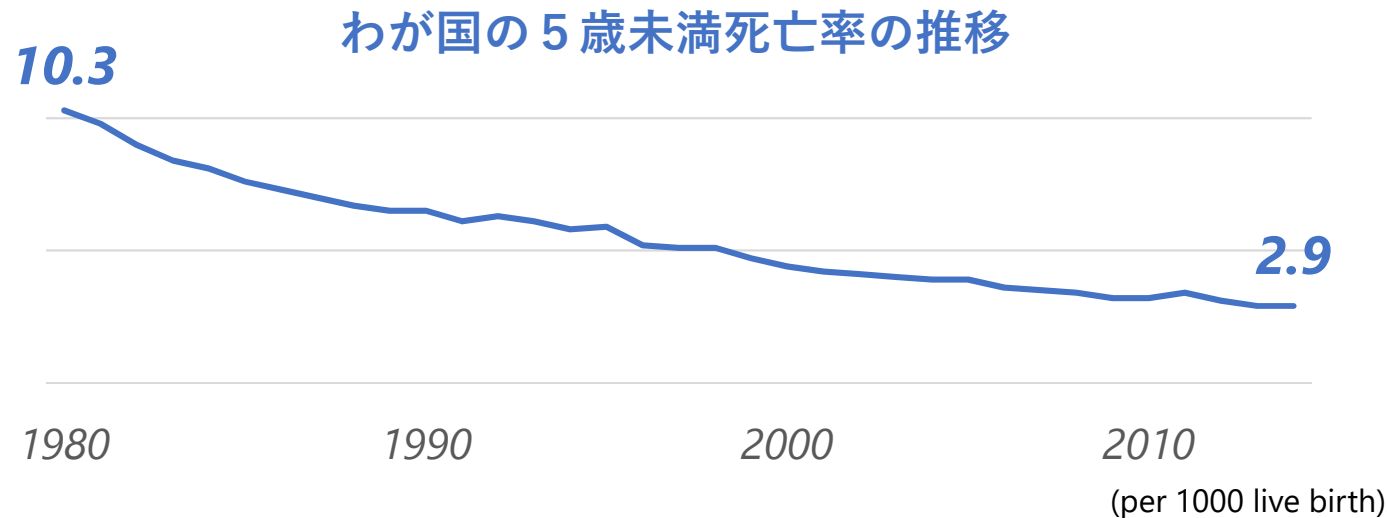
実施主体間の登録の相対的格差は
それほど大きくない

小児慢性特定疾病登録データベースの特徴

対象疾病	小児慢性特定疾病の受給率 (※)	
	H25-26	H28-29
1 型糖尿病	58.1%	60.0%
胆道閉鎖症	60.0%	60.0%
成長ホルモン分泌不全性低身長症	53.2%	53.8%
IgA腎症	40.0%	33.3%
若年性特発性関節炎	50.0%	61.2%

- 疾患概念が固まっており診療報酬明細書（レセプト）データから比較的同一の傷病名が用いられやすく、発症数がある程度見込まれレセプトデータ内のレコードが存在する可能性が高い小児慢性特定疾病を選択した
- 1型糖尿病は、過去の報告から別の手段により、小児における有病率が推計されており、その際に小児慢性特定疾病の登録状況が比較的良好であるという結果が得られており、本研究におけるreferenceとした
- 本研究で用いた解析対象集団は、一つの自治体における国民健康保険（国保）加入者であり、国保の特性から小児人口のカバー率が低く、また加入者に系統的な偏りが存在しているため、今回の結果を直接一般化することはできない
- レセプトデータを利用した解析の限界として、完全に個体を識別できていないだけでなく、解析上定義した症例に対する割合となるため、人数に対する割合ではなく、定義された症例件数に対する割合である

小児慢性特定疾病患者の自立支援等



- 小児慢性特定疾病患者においても、**生命予後は大きく改善**
- 一方で無治療軽快に到達せず、医療的介入等を継続しつつ**疾病を抱えて成人に到達する者が増加**
- 身体的・精神的・社会的な（**Biopsychosocial**）視点で、子ども全体を捉え、包括的に支援することが重要となってきた

生活実態調査

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

【対 象】 全国の小児慢性特定疾病を受給している児童とその保護者

【目 的】 身体的・心理的・社会的状況の特徴を調査し、
より適切な児や家族への支援につなげることを目的とする

【方 法】 インターネットを利用したウェブ調査方式

【調査内容】 基本情報、心の健康指標（K6）、健康関連QOL
（PedsQL） 、

移行期医療に関する質問、身体精神の健康調査（SF-8）等

生活実態調査

	K6 score (※)	<i>n</i>	Low (0-4)	Moderate (5-12)	Severe (13-24)
12-14歳	生活実態調査	639	73.2%	22.2%	4.6%
	国民生活基礎調査	12,626	84.6%	13.5%	1.9%
15-19歳	生活実態調査	1,168	64.5%	28.2%	7.4%
	国民生活基礎調査	20,223	78.1%	18.7%	3.2%

	K6 score (※)	Mean	<i>p</i>	Cohen's <i>d</i>
12-14歳	生活実態調査	3.17	0.000	0.394
	国民生活基礎調査	1.82		
15-19歳	生活実態調査	4.18	0.000	0.422
	国民生活基礎調査	2.46		

※ 自己回答による心の健康指標 (K6) の結果

患儿は精神的負担を抱えながら生活している

生活実態調査

	Crude OR				Adjusted OR*				Adjusted OR**			
	n	(%)	OR	(95% CI)	n	(%)	OR	(95% CI)	n	(%)	OR	(95% CI)
月数回	861	(40.9)	1.8	(1.20 2.57)	858	(40.9)	1.8	(1.24 2.67)	847	(40.9)	1.6	(1.08 2.39)
毎月	756	(35.9)	1.1	(0.86 1.34)	755	(36.0)	1.1	(0.87 1.35)	746	(36.0)	1.0	(0.83 1.30)
2,3か月ごと	216	(10.3)	1.0		215	(10.2)	1.0		213	(10.3)	1.0	
年2,3回	230	(10.9)	1.1	(0.82 1.59)	229	(10.9)	1.2	(0.83 1.63)	224	(10.8)	1.2	(0.85 1.68)
年1回以下	42	(2.0)	1.1	(0.52 2.14)	42	(2.0)	1.1	(0.53 2.18)	41	(2.0)	1.1	(0.52 2.16)

* 児の性別、年齢で調整

** 児の性別、年齢、保護者の性別、年齢、部活動等における制約の有無で調整

毎月複数回通院が必要な場合、
就職支援を望む割合が高い可能性がある

平成30年度厚生労働行政推進調査事業費補助金（難治性疾患等政策研究事業（難治性疾患政策研究事業））

「小児慢性特定疾病対策の推進に寄与する実践的基盤提供にむけた研究」分担研究報告書

「慢性疾患を有する子どものQOLおよび社会支援等に関する実態調査」国立成育医療研究センター 掛江直子 室長