

小児慢性特定疾病におけるヒト成長ホルモン治療を 行う場合の疾病の状態の程度について

令和5年12月27日

児童福祉法(昭和22年法律第164号)(抄)

第6条の2第1項 この法律で、小児慢性特定疾病とは、児童又は児童以外の満二十歳に満たない者(以下「児童等」という。)が当該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し、及びその生命に危険が及ぶおそれがあるものであるであつて、療養のために多額の費用を要するものとして厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いて定める疾病をいう。

第6条の2第3項 この法律で、小児慢性特定疾病医療支援とは、小児慢性特定疾病児童等であつて、当該疾病の状態が当該小児慢性特定疾病ごとに厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いて定める程度であるものに対し行われる医療(当該小児慢性特定疾病に係るものに限る。)をいう。

「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)」(平成25年12月)(抄)

第2 公平で安定的な医療費助成の仕組みの構築

1. 医療費助成の対象

(2) 対象疾患

- 医療費助成の対象疾患は、これまでの考え方を踏まえ、次の①～④を考慮して選定することが必要である。
 - ① 慢性に経過する疾病であること
 - ② 生命を長期にわたって脅かす疾病であること
 - ③ 症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾患であること
 - ④ 長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾患であること
- 対象疾患の選定や見直し等については、公正性・透明性を確保する観点から、社会保障審議会で審議することが適当であり、具体的な検討の場としては、当専門委員会が想定される。

小児慢性特定疾病におけるヒト成長ホルモン治療を行う場合の基準について

- 近年の医学の進歩により、ヒト成長ホルモン製剤について、小児慢性特定疾病の対象疾病と関連した新規の適応症が承認されたところ。
- 一方、小児慢性特定疾病におけるヒト成長ホルモン治療を行う場合の医療費助成については、厚生労働大臣告示(※)において、その対象となる基準が定められており、同基準において、ヒト成長ホルモン製剤の新規の適応症は対象外となっている。



- 医学の進歩に伴う同製剤の適応の変更等に鑑み、同基準については撤廃することとしてはどうか。

※ 児童福祉法第六条の二第一項の規定に基づき厚生労働大臣が定める小児慢性特定疾病及び同条第三項の規定に基づき当該小児慢性特定疾病ごとに厚生労働大臣が定める疾病の状態の程度(平成26年厚生労働省告示第475号)

(参考) 児童福祉法第六条の二第一項の規定に基づき厚生労働大臣が定める小児慢性特定疾病及び同条第三項の規定に基づき当該小児慢性特定疾病ごとに厚生労働大臣が定める疾病の状態の程度(平成26年厚生労働省告示第475号) 第5表より抜粋

備考

1 ヒト成長ホルモン治療を行う場合においては、この表に定める疾病の状態の程度であって次の基準を満たすものを対象とする。

I 開始基準

新たに治療を開始する場合は、次の要件を満たすこと。

1 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。)による低身長の場合 次のいずれも満たすこと。ただし、乳幼児で成長ホルモン分泌不全が原因と考えられる症候性低血糖がある場合は、(3)を満たしていれば足りること。

(1) 現在の身長が別表第一に掲げる値以下であること。

(2) IGF-1(ソマトメジンC)値が200ng/ml未満(5歳未満の場合は、150ng/ml未満)であること。

(3) 乳幼児で成長ホルモン(GH)分泌不全が原因と考えられる症候性低血糖がある場合は1種以上、その他の場合は2種以上の成長ホルモン分泌刺激試験(空腹下で行われた場合に限る。)の全ての結果(試験前の測定値を含む。)で、成長ホルモンの最高値が6ng/ml(GHRP-2負荷では16ng/ml)以下であること。

2 後天性下垂体機能低下症、先天性下垂体機能低下症又は成長ホルモン(GH)分泌不全性低身長症(脳の器質的原因によるものに限る。)(1種以上の成長ホルモン分泌刺激試験(空腹下で行われた場合に限る。)の全ての結果(試験前の測定値を含む。)で、成長ホルモンの最高値が6ng/ml(GHRP-2負荷では16ng/ml)以下である場合に限る。)による低身長の場合 次のいずれかに該当すること。

(1) 現在の身長が別表第二に掲げる値以下であること。

(2) 年間の成長速度が、2年以上にわたるか否かを問わず、別表第三に掲げる値以下で経過していること。

3 ターナー症候群又はプラダー・ウィリ症候群による低身長の場合 次のいずれかに該当すること。

(1) 現在の身長が別表第二に掲げる値以下であること。

(2) 年間の成長速度が、2年以上にわたって別表第三に掲げる値以下であること。

4 ヌーナン症候群による低身長の場合 現在の身長が別表第二に掲げる値以下であること。

5 軟骨低形成症又は軟骨無形成症による低身長の場合 現在の身長が別表第四に掲げる値以下であること。

6 腎機能低下による低身長の場合 現在の身長が別表第一に掲げる値以下であること。

II 継続基準

次のいずれかに該当すること。

1 後天性下垂体機能低下症、先天性下垂体機能低下症、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に限る。)又は成長ホルモン(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。)による低身長の場合 初年度は、年間成長速度が6.0cm/年以上又は治療中1年間の成長速度と治療前1年間の成長速度との差が2.0cm/年以上であること。治療2年目以降は、年間成長速度が3.0cm/年以上であること。

2 腎機能低下、ターナー症候群、プラダー・ウィリ症候群、ヌーナン症候群、軟骨低形成症又は軟骨無形成症による低身長の場合 初年度は、年間成長速度が4.0cm/年以上又は治療中1年間の成長速度と治療前1年間の成長速度との差が1.0cm/年以上であること。治療2年目以降は、年間成長速度が2.0cm/年以上であること。治療3年目以降は、年間成長速度が1.0cm/年以上であること。

III 終了基準

男子にあっては身長156.4cm、女子にあっては身長145.4cmに達したこと。

2 疾病の状態の程度に定める症状を呈していない者に対する治療を行う場合であって、当該治療が当該症状を呈すると予測されるものに対して行う治療として保険適用されている場合は、疾病の状態の程度を満たすものとする。

今後のスケジュール(案)

第1回小児慢性特定
疾病検討委員会
(令和5年12月27日)

・小児慢性特定疾病検討委員会における審議・検討結果の取りまとめ



令和6年1月(予定)

・パブリックコメント



令和6年2月(予定)

・社会保障審議会小児慢性特定疾病対策部会における審議・決定



令和6年4月(予定)

・改正告示の適用