

小児科診療 UP-to-DATE

2016年4月20日放送

治療用特殊ミルクの現状と安定供給上の問題点

仙台市立病院 小児科部長
日本小児連絡協議会 治療用ミルク安定供給委員会 委員長
大浦 敏博

本日は「治療用特殊ミルクの現状と安定供給上の問題点」というテーマでお話させていただきます。私は日本小児連絡協議会治療用ミルク安定供給委員会の委員長をしております、仙台市立病院小児科の大浦と申します。よろしくお願いいたします。

特殊ミルクとは栄養成分を調整した治療用ミルクのことです。ミルクアレルギーや乳糖不耐症などの治療に用いられる特殊ミルクが、「市販品」として販売されているのはご存知の方も多いのではないのでしょうか。先天代謝異常症を対象とした特殊ミルクには薬として処方箋で購入する「医薬品」と国庫補助のある「登録」特殊ミルクがあります。さらに代謝異常症以外を対象とする「登録外」特殊ミルクがあります。この様に我が国の特殊ミルクは4つのカテゴリーに分類されています。現在、登録特殊ミルクは22品目、登録外特殊ミルクは13品目あり、いずれも特殊ミルク事務局を通して無料で主治医に供給されています。今日お話しするのはこの登録および登録外特殊ミルクの問題です。

先天代謝異常症とは稀な遺伝性の病気で、多くの場合発育の遅れや、知能障害、けいれんなどの症状を引き起こします。治療法が確立されていない病気もありますが、特定の栄養

表1 特殊ミルクの分類(2016年3月現在)

- | | |
|---------------------------------------|----------------|
| • 医薬品(2品目)
健康保険適用...処方箋で購入 | } 特殊ミルク事務局より供給 |
| • 登録特殊ミルク(22品目)
無償提供...公費助成+メーカー負担 | |
| • 登録外特殊ミルク(13品目)
無償提供...全額メーカー負担 | |
| • 市販品(11品目)...アレルギー用ミルクなど
有料 | |

成分を除去した特殊ミルクを使用することにより治療できる病気があります。代表的な病気がフェニルケトン尿症です。フェニルケトン尿症患児では体内にアミノ酸の一種であるフェニルアラニンが蓄積し、知能障害やけいれんを引き起こします。このフェニルケトン尿症の患児を生後すぐに診断し、フェニルアラニンが除去された特殊ミルクを用いて治療すると、体内のフェニルアラニン濃度が低下し、知能障害を予防できることが 1953 年に報告されました。

フェニルケトン尿症以外にも、生後すぐに診断して早期治療を開始すれば、障害を予防できる代謝異常症があります。我が国でも 5 つの先天代謝異常症を対象に、早期発見のための新生児マススクリーニングが 1977 年度から始まりました。病気ごとに異なる特殊ミルクが必要ですが、それぞれの病気の頻度は数万人から数十万人に一人と極めて低いため、乳業メーカーは製造しても利潤を出すことが出来ません。そこで、国からの補助を受け、先天代謝異常症の治療に必要な特殊ミルクの安定供給を目的とした特殊ミルク共同安全開発事業が 1980 年に発足しました。その窓口が特殊ミルク事務局です。先天代謝異常症の治療に不可欠な特殊ミルクは登録特殊ミルクとして承認され、製造に掛かる経費は乳業メーカーと公費で折半することになりました。また、先天代謝異常症以外の病気の治療に使用される特殊ミルクも開発されましたが、これらは登録外特殊ミルクとして、全額乳業メーカーの負担で供給されていました。

それ以来、特殊ミルク供給事業は国の補助と乳業メーカーの協力のもと、30 年以上にわたり特殊ミルクの安定供給に寄与してきました。しかし時代の変化とともに、問題点も指摘されるようになってきました。ここでは、問題点を 3 つに整理してみます。

一つは供給量の増加です。登録特殊ミルクの適応症の拡大や新生児マススクリーニングの対象疾患が増加したことにより、特殊ミルクを必要とする患児は確実に増加しています。2014 年度の登録特殊ミルクの出荷量は 20,084kg、登録外特殊ミルクは 7,912kg で総計は約 28,000kg ですが、この事業開始当初から比較すると 5 倍以上に増えています。しかし、国からの補助金は 2013 年度より特別会計から一般財源化し、大幅な予算の増額は難しくなっています。このように増大する特殊ミルクの供給量と国からの補助金の乖離が広がり、乳業メーカーの負担が増え続けていることが安定供給上の大

薬価収載品(2品目)	
フェニルアラニン除去ミルク	フェニルケトン尿症
ロイシン・イソロイシン・バリン除去ミルク	楓糖尿症
登録特殊ミルク(22品目、20,084kg)	
必須脂肪酸強化MCTフォーミュラ	脂肪酸代謝異常症
糖原病用フォーミュラ	糖原病
蛋白除去粉乳	高アンモニア血症など
ロイシン除去粉乳	イソ草酸血症など
メチオニン除去粉乳	ホモシスチン尿症
リジン・トリプトファン除去粉乳	グルタル酸血症 I 型
登録外特殊ミルク(13品目、7,912kg)	
ケトンフォーミュラ	小児難治性てんかん
低カリウム・中リンフォーミュラ	小児慢性腎臓病

()内の数字は2014年度分の供給量

● 対象疾患の増加、適応拡大による供給量の増加
✓ 登録特殊ミルクに掛かる国庫補助の拡充が必要
● 成人期も治療継続が必要である
✓ 登録特殊ミルクの20歳以上への供給を認める
● 小児慢性腎臓病、難治性てんかんの治療にも特殊ミルクが有効
✓ 治療に不可欠な登録外特殊ミルクを登録品として承認する

● 希少疾患に対する特殊ミルクを包括的に扱う新たな枠組みが必要
✓ Medical food(医療用食品)の仕組みを導入する

きな問題となっています。

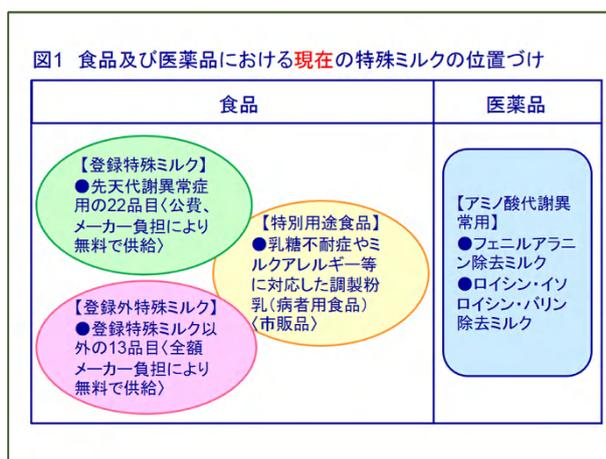
二つ目は対象年齢の問題です。この事業は小児が対象であるため、登録特殊ミルクの対象患者は20歳未満に限られています。成人に供給した場合、20歳以上は対象外であるため国庫補助が受けられず全額乳業メーカーが負担することになります。新生児マススクリーニングが開始されて以来、既に38年が経過しており、発見された患者の多くが成人になっています。成人後も特殊ミルクは治療上必要であり、現状では登録特殊ミルクの13%が成人に供給されています。このままでは年々乳業メーカーの負担が増大することになります。

三つ目の問題は、乳業メーカーの全額負担で供給している登録外特殊ミルクが増加していることです。特に、難治性てんかんの治療に用いられるケトンフォーミュラと小児慢性腎臓病の治療に不可欠な低カリウム・中リンフォーミュラの供給量が著しく増えており、登録外特殊ミルクの80%を占めています。両者合わせた製造費は約9000万円となり、全額乳業メーカーが負担しています。これらの特殊ミルクは対象となる病気が先天代謝異常症でないため、国庫補助が受けられません。しかし、小児の難病治療に不可欠な特殊ミルクの費用を100%乳業メーカーが負担している現状は、安定供給上の大きな問題です。先天代謝異常症以外であっても効果が明らかで、治療に不可欠な登録外特殊ミルクの登録品化を進めるべきと考えます。

次に、今後の解決への道筋として、2つの提案をお話します。

解決策の一つは特殊ミルク供給事業の充実を図ることです。現在の登録特殊ミルクの供給体制は患者家族に負担はなく、医療機関を通して医師の指示の下に患者に供給される良い方法であります。対象となる患者数の増加に見合った予算の増額だけでなく、登録外特殊ミルクのケトンフォーミュラと低カリウム・中リンフォーミュラに関しては難治性てんかん、慢性腎臓病という小児希少難病が対象であることに鑑み、早急に登録特殊ミルクとして承認すべきであります。さらに難病対策として20歳以上も国庫補助事業の対象とし、継続的に供給できる仕組みを構築すべきであると思われます。その為にも、相応の予算の増額が求められます。

二つ目の解決策として、将来的には医療用食品として新たな枠組みを作ることが必要であります。我が国では先天代謝異常症などの希少難病に用いられる特殊ミルクが、一部は医薬品、その他は制度上食品と位置付けられている登録特殊ミルク、登録外特殊ミルクとして存在します。病気の治療に用いられる特殊ミルクがこの様に医薬品と食品に分けられていること自体おかしな話です。欧米先進国



では特殊ミルクは医療用食品（Medical Food）と位置づけられ、医師の処方箋により入手し、医療保険や償還制度の適応となっています。特殊ミルクは栄養学的には不完全なミルクですので、間違えて使用された場合は重大な栄養障害をもたらします。使用に当たっては医師、管理栄養士の指導の下、医薬品として処方箋で供給されるのが望ましいと思われま

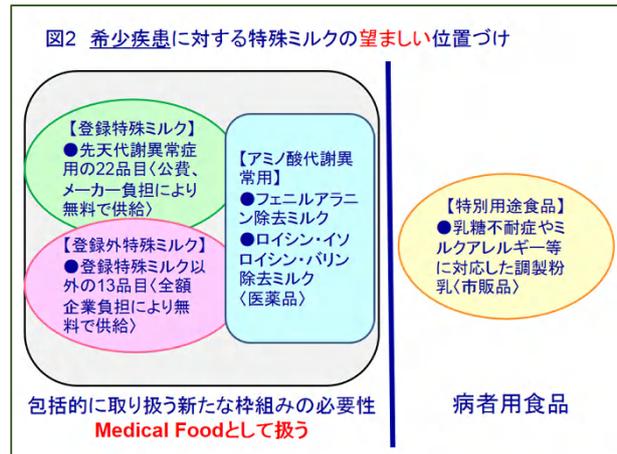
す。特殊ミルク供給事業が発足した当時、登録特殊ミルクは医薬品化を目指していました。現在医薬品として存在する特殊ミルクは2品目のみですが、2007年までは6種類の特殊ミルクが医薬品として薬価収載されていました。しかし、2005年の薬事法改正により各種管理規制が強化されたため、特殊ミルクを医薬品の品質で製造することが極めて困難になり、一部のミルクで薬価収載の取り下げが行われました。

特殊ミルクを新たな医療用食品として扱うためには医薬品としての品質管理を求めめるのではなく、医薬品原料と食品原料ともに使用を認め、食品の規格のままで保険収載の医薬品として扱い、医師の処方箋で入手可能な新しい仕組みを構築することが望ましい姿であると考えられます。

現在、乳業メーカーが製造している登録特殊ミルクと登録外特殊ミルクに掛かる費用は年間3億円を超えていると考えられます。一方、2014年度の国庫補助額は1億円であり、乳業メーカー3社の持ち出しは2億円以上になります。乳業メーカーはこの事業を社会貢献という立場で協力してきたと思われま

すが、メーカーの負担の上に成り立つ状態を放置すればいずれ破たんすることが憂慮され、抜本的改革が急務であると考えられます。

以上、治療用特殊ミルクの現状と問題点、今後の方策についてお話ししました。



「小児科診療 UP-to-DATE」

<http://medical.radionikkei.jp/uptodate/>