

<報告>

特殊ミルク供給体制について

特殊ミルク供給事業安全開発委員会委員長
井田博幸

1. はじめに

我が国では1977年から先天代謝異常症（以下、IEMと略す）を対象にした新生児マススクリーニング（以下、NBSと略す）が開始されました。NBSで同定されたIEM患者さんを治療するための特殊ミルクを供給する目的で1980年12月に特殊ミルク共同安全開発事業が設立されました。この事業に基づき特殊ミルク供給事業が実施されています。このような経緯から特殊ミルク供給事業の対象は原則としてIEMであり、その治療に使用される特殊ミルクは「登録特殊ミルク」に分類され助成対象（＝厚生労働省から製造費の多くが補助されている）になっています。これに対してIEM以外の疾患（腎疾患、神経疾患、消化器疾患、内分泌疾患など）に使用される特殊ミルクは「登録外特殊ミルク」に分類され、助成の対象にはなっていません（＝乳業メーカーの慈善事業で供給されている）。またフェニルアラニン除去ミルクと

ロイシン・イソロイシン・バリン除去ミルクは特殊ミルク供給事業ではなく医薬品として処方箋を用いて患者さんに供給するシステムになっています（＝健康保険で賄われている）。さらに市販されている特殊ミルクもあります（本誌79頁参考）。本稿では特殊ミルク供給事業で供給されている特殊ミルクの供給量を中心に記載し、その課題・対策について概説いたします。

2. 特殊ミルク全体（登録品+登録外品）の供給量の推移（図1）

特殊ミルク全体の供給量は2001年度が約10トン（登録品のみ）、2008年度が約20トン（登録品が約15トン、登録外品が約5トン）、2018年度が約30トン（登録品が約20トン、登録外品が約10トン）と登録品、登録外品ともに年々、右肩上がりに増加しています。特殊ミルク全体のここ5年間の供給量の推移を図1に示しますが、

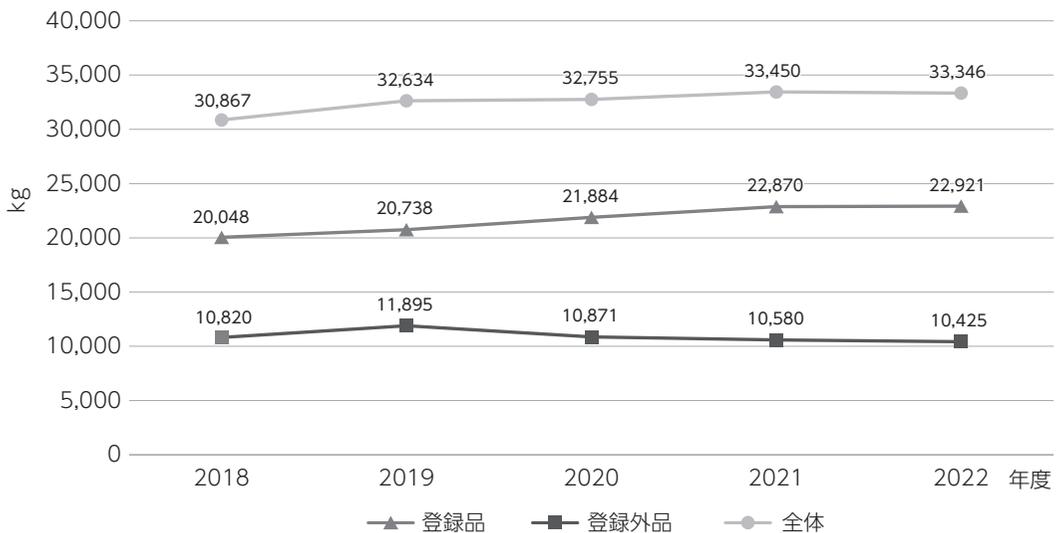


図1. 特殊ミルク全体の供給量の推移（登録品+登録外品）

2022年度の全体の供給量は33.3トンで2021年度に比べ僅かですが減少しました。この減少の主な要因は難治てんかんに使用する817-B（ケトンフォーミュラ）の登録外品の供給量の減少です。817-Bの供給量の減少は供給に際して補足申請書を必要とするようなシステムに変更したことや申請書の審査を強化したことが影響していると思われます。817-Bについては本稿の項目4で詳細について記載します。

3. 登録特殊ミルクの上位5品目の供給量の推移（図2）

2022年度の登録特殊ミルクの全体の供給量は22.9トンで、そのうち最も供給量が多いのは721（必須脂肪酸強化MCTフォーミュラ）です。特殊ミルク全体でも721の供給量は第1位です。その供給量は2018年度には3,011 kgでしたが2021年度には4,987 kgと約1.7倍に増加しています。その増加の要因を分析したところ胆汁鬱滞に対する供給量が増加していました。次稿で特殊ミルクの適応について説明しますが721の胆汁鬱滞に係る助成対象の適応疾患は（1）シトリン欠損症（2）胆道閉鎖症（特殊ミルクの主な使用目的は術後の胆汁鬱滞に起因する成長障害）（3）アラジール症候群（4）進行性家族性肝内胆汁鬱滞症の4つ

のみです。その他の病態による胆汁鬱滞に対しては721ではなく市販MCTミルクを使用するよう指導したところ2022年度の供給量は2021年度比で175 kg減少しました。なおMCTミルクが健康食品として購入されていることから市販品の購入が困難であるとのクレームが事務局にありました。乳業メーカーの協力のもと2023年9月から市販品の流通システムを変更するとともにMCTミルクの増産を行ったので現在はこの問題はほぼ解決しています。

その他、GLUT1欠損症とピルビン酸脱水素酵素複合体欠損症に使用する817-B、メチルマロン酸血症とプロピオン酸血症に使用するS-22（イソロイシン・バリン・メチオニン・スレオニン・グリシン除去粉乳）、主に尿素サイクル異常症に使用するS-23（蛋白除去粉乳）、糖尿病に使用するGSD-Nが供給量の多い登録特殊ミルクですが、これら4つの特殊ミルクの供給量にはこの5年間、大きな変化はありません。

4. 登録外特殊ミルクの供給量の推移（図3）

2022年度の登録外特殊ミルクの全体の供給量は10.4トンで、このうち8806H（小児慢性腎臓病用）が4.8トン、難治性てんかんに使用する817-Bが4.3トンです。これら2つの品目で登録外

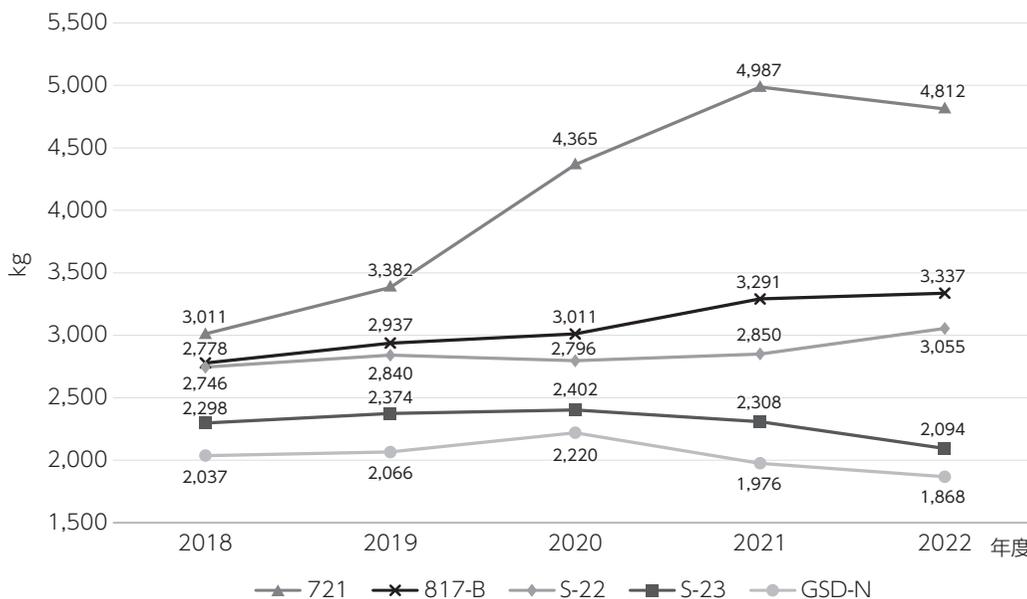


図2. 登録特殊ミルクの供給量上位5品目の供給量の推移

の特殊ミルクの供給量の約90%を占めています。

8806Hは特殊ミルク全体でも2番目に供給量が多い品目です。その供給量はここ数年4トン台後半で推移しています。特殊ミルク治療ガイドブックには8806Hの適応年齢は幼児期後半までと記載されていますが調査の結果、8806Hを供給している169名中、31名(18%)が6歳以上の症例で、かつ31例中、15例が今後も8806Hの供給を希望していました(2022年度データ)。8806Hの適正使用を促すため小児腎臓病学会の協力で新しい申請書を用いた審査システムを2024年から導入する予定です(本誌76頁参考)。

難治てんかんに対する817-Bは特殊ミルク全体でも3番目に供給量が多い品目です。817-Bの登録外品の供給量は2019年度の5.8トンをピークに年々、減少して2022年度には4.3トンまで減少しました。この減少は前述したように供給に際してその審査を厳格にしたことが影響していると推察しています。適応病名が難治てんかんという曖昧な定義のため供給している患者さんの年齢や疾患

の幅が広い点、効果判定の評価が難しいという点が他の特殊ミルク適応疾患との違いです。現在、特殊ミルク事務局では小児神経学会と協力して、年長児に対してフォーミュラに依存しない食事によるケトン食療法の推進、適応疾患の選別、効果判定方法の見直しなどの作業に着手しています。

5. 2022年度特殊ミルクの供給患者数(表1)

2022年度においては登録特殊ミルクが1,345名(うち20歳未満が1,079名、20歳以上が266名)の患者さんに、登録外特殊ミルクが430名(うち難治てんかんの患者さんが189名、腎疾患の患者さんが169名でこれら2疾患が全体の83%を占めている)の患者さんに供給されていました。2021年度に比べて20歳未満の供給患者数はやや減少していますが(2021年度1,529人から2022年度1,497人)、成人に移行する患者さんの増加により20歳以上の患者さんへの供給量はやや増加しています(2021年度266人から2022年度278人)。

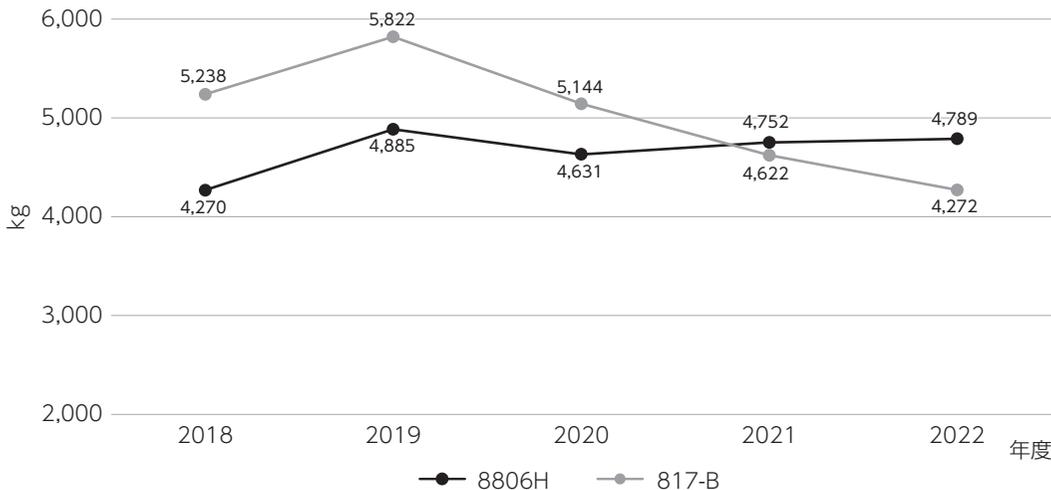


図3. 登録外特殊ミルクの供給量上位2品目の供給量の推移

表1. 2022年度 特殊ミルク供給患者数

	20歳未満	20歳以上	合計
登録品	1,079人	266人	1,345人
登録外品	418人	12人	430人
合計	1,497人	278人	1,775人

※特殊ミルク事務局から特殊ミルクが供給されている患者数(医薬品、市販品は含まれない)

6. おわりに

特殊ミルクは国庫補助金と乳業メーカーの負担により患者さんに無償で提供されています。2022年度の特特殊ミルク全体の製造費は20歳未満が約3億9,700万円（うち登録品2億5,000万円、登録外品1億4,700万円）、20歳以上が約7,700万円の約4億7,400万円でした。国庫補助金は2億1,400万円ですので乳業メーカーの負担は2億6,000万円となっています。乳業メーカー負担の大部分は登録外品の製造費です。

以上のように特殊ミルク供給事業は国と乳業メーカー、特に乳業メーカーの社会貢献で維持されていますが、タンデムマス導入によるNBSの対象疾患の拡大・登録外品の対象となる疾患の増加・予後の改善による生存率の向上などにより特殊ミルクを必要とする患者さんの数が増加しています。その結果、供給量が増加し、特殊ミルクを安定的に供給することが財政面あるいは生産面から難しくなっています。本稿を熟読して特殊ミルク供給事業の現状を理解していただき、本事業をサステイナブルな事業にするため皆様のご協力をよろしくお願い申し上げます。

* * *