

JPA事務局ニュース <No.49> 2012 年 5 月 21 日

<発行> 一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会(JPA)事務局
 〒162-0822 東京都新宿区下宮比町 2-28 飯田橋ハイタウン 610 号
 TEL03-6280-7734 FAX03-6280-7735 jpa@ia2.itkeeper.ne.jp
 JPAホームページ <http://www.nanbyo.jp/>

☆第2回難病研究・医療ワーキンググループで「難病の定義」など議論（概要）
 ☆内閣府、障害者政策委員会メンバーを発表 JPA伊藤代表理事がメンバーに就任

☆第2回難病研究・医療ワーキンググループが開かれました。(5月18日)

「難病の定義」「医療費助成の在り方」などを議論

* 資料は既に厚生労働省ホームページで公表されています。 (7ページ〜 一部資料添付)
<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002aqyw.html>

* このメモは私の傍聴メモに基づいて整理したものであり、議論の様子をできるだけ早く伝えることを重視し、私の責任で公表しました。細かなニュアンスなどは、後ほど出される正式な議事録を参照してください。(まとめ・水谷幸司)

○冒頭、外山健康局長があいさつし、難病対策の抜本改革にむけて、焦点をしばった議論を進めてほしいと述べました。

○葛原座長の進行で、4つの論点について、事務局（厚生労働省健康局疾病対策課）より資料説明を受けたうえで議論されました。以下、出されたおおよその意見を紹介します。

1) 難病の定義、範囲について

○事務局からの説明（疾病対策課竹内課長補佐）

- ・今後の難病対策において対象とする「難病」の定義について議論してほしい。
- ・これまでの定義としては、難病対策要綱（昭和47年）の定義、難病対策専門委員会最終報告（平成7年）における定義「今後の特定疾患対策の基本的方向」がある。
- ・この2つの定義は、原因不明、治療法未確立、生活面への支障という点では共通しているが、「希少性」については差が見られる。この点をどう考えるか。
- ・昭和47年の「難病対策要綱」に基づく対策は8疾患からスタートしている。
- ・法制化を考えると、疾患概念（外縁）があきらかになっていないといけない。
- ・また、障害者総合支援法案については現在まだ国会を通っていないが、この法律における「難病等」の対象範囲については健康局、難病対策委員会で検討される難病の定義をふまえて決定されるとしている。この政令で定める疾病の範囲をどう考えるか。

○（座長）それでは意見のある方から。

- （伊藤）難病の定義をどうするかについては、これまでも様々な議論があった。定義といっても法律や施策のそれぞれで違っている。そこを整理しないと「希少性をどう考えるか」という問題は見えてこない。私は「難病対策要綱」における定義は、当時の社会環境のなかで、福祉も含めた社会的な側面もあわせて定義したもので、先駆的な定義だったと思う。国際的にもそういう評価を受けた。そういう意味ではまずこの定義を、今後の難病対策のなかでも貫くべきではないか。医療費助成など個別施策のなかでの在り方については分けて議論をしてもらいたい。「希少性について差がある」というのは差ではなく、定義の目的が違う。特定疾患の定義と難病の定義は混同しないで議論をしてもらいたい。
- 「特定」という意味は、時宜にあってその時点で必要なものということ。「難病」の定義とは別ものである。今後の対策における定義としては、希少難病、希少疾患ということでもいいと思う。レアディジーズということ。また新しい治療法ができたからもういいというものではない。希少性ということをはっきりさせるべき。
- 研究費、治療法の開発に公費を使うことを国民に納得してもらうためには難病一般ではなく、政策として考えた場合には希少な難病を集めて治療をするということ。
- （伊藤）介護や経済的な問題の解決という点、福祉的な措置が必要な人たちのことを考えると、希少疾患以外の難治性疾患の人たちにも福祉サービスは必要。また研究ということになると範囲をもっと広くとる必要がある。私は、障害者総合支援法における福祉的支援の範囲については、難病の定義は幅広くとらえるべきと考える。
- 希少疾患ということで今回はしぼりこんだ方がいいのではないかな。
- 単に治りにくいという点でいえば他の（難病でない）病気もある。定義としてはあまり広げない方がよいのではないかな。
- 数の少ない疾患に今後の難病対策は光をあててほしいと思う。
- 広くとらえるべきという意見と希少疾患にしぼるべきとの意見。どちらの意見も納得できる。法制化を視野に入れた際にどう考えるかという点も必要。難病というと治療法未確立で、かつ日常生活に障害があるということで包括的にとらえることでいいのではないかな。
- （伊藤）施策の対象範囲を明確化するためということでは診断基準を明確化するとすると、いま診断方法もわからず困難を抱えている患者を対策からはずすということになる。それでは一体改革大綱での記述とも違うことにならないかな。
- （局長）難病の外縁を明らかにするという趣旨は、仮に法制化し施策として確立する場合には、一定の疾患概念がなければ対象を特定できない。法律に基づく事業として展開しにくいということ。難病対策からの除外ということではない。施策の対象範囲としての「希少・難治性」をどうとらえるかということ。義務的に国費を支弁するために法制化をする問題と、総合的な対策の対象については違うものとして考えてほしい。
- 疾患概念を漠然と考えたグループがあって、その中で一定の研究が進むと外縁が明らかな疾患とそうでなく残されたものが出てくる。最初からきれいな診断基準のものだけとなると、いまわからないものははずれることになる。そこがはずれないようにしなければいけないということ。
- （局長）ここで疾患概念を明らかにしたいとする趣旨は法対象にするものということでは考えてほしい。

- （座長）一般的に治らないものまで含むか、あるいは比較的稀な疾患にしばるべきかという点では、希少疾患にしばるという人の方が意見としては多いようだ。
- （伊藤）先生方が研究としてまとめられることに異論はないが、このワーキンググループとしてまとめることについては態度を保留させてほしい。
- （座長）厚労省に研究班があるので、そちらでも難病の定義について整理してもらう作業をお願いすることでみなさんのご理解を得たい。この研究では国立保健医療科学院の松谷先生が班長で医学的な整理をしてもらうことになっている。
- （事務局）定義のもう一つのテーマである障害者総合支援法における対象範囲についてはどう考えるか。難病対策全般における難病の範囲と、障害者総合支援法の福祉サービスの対象にすべき疾病の範囲についてご意見をいただきたい。
- （伊藤）福祉の対象範囲については広く含めていただきたい。
- 同意見だが、難病と障害は本来概念の違うもの。福祉については障害者と認定されれば支援するもの。難病と希少を混同して議論することも問題。整理が必要。
- （局長）身体障害者手帳のない難病患者であっても福祉施策の対象にすべきという議論があって、今回、障害者総合支援法で手帳のない難病患者もあらたなカテゴリーで対象に入れようという議論をしている。このワーキングで大きく定義するのは難病における新法の範囲。障害者総合支援法に定める難病の範囲についても、こちらの議論をふまえてということになっている。
- 今の身体障害者手帳は障害の固定が基本にある。障害が固定しないで進行、寛解状態の人たちをどうするかということと理解した。
- 介護保険の要介護認定も見直しをしている。希少性の疾患をきちんと定義して、対象範囲は幅広いものとすることで見直して福祉サービスは障害者の総合対策で包括的にやられるようにしてはどうか。
- （局長）後ほど論点を詳しく紹介したい。現在、健康局の事業でもやっている（難病患者等居宅生活支援事業）が、対策の売れ行きが弱い。真にニーズがある人が受けられていない。認定の方法も違ったものにすべきという議論もある。見直しが進んでいるものも事実ある。新しく対象に入れるものについては、範囲や程度についてもわれわれから提示していかなければいけないと考える。
- （伊藤）この法案（障害者総合支援法案）がとおると来年4月から施行となる。疾病という観点から障害者施策に入るはじめての法律となる。その対象範囲をどうするかについて健康局にボールが投げられてきている。その範囲をきちんと決めないと、範囲がきまらないままに施行となってしまう。このワーキングで決めるのかどうかははっきりしてほしい。
- （座長）この点については、どういう問題点があるのか。従来の障害者自立支援法ではどうなっているのか。とくに進行性、変動する場合の障害についてどう考えるか。一方で内部障害については手術したら手帳を出すということになっている。事務局で論点整理をしていただいたうえで次回議論をお願いしたい。

2) 医療費助成のあり方について。

○事務局の説明（疾病対策課竹内課長補佐）

- ・ 現行の特定疾患治療研究事業の目的には「治療がきわめて困難で医療費が高額にある

患者の医療費の負担軽減を図る」とされている。その対象となる患者の受給者証には「公費負担により受療を促進することによってその原因を究明し、もって治療方法の開発等に資することを目的とする」と書かれている。

- ・この事業の二つの側面をどう考えるか。
 - 1) 症例データを集めることについてどう考えるか。
 - 2) 原則として対象疾患患者のすべてに医療費助成を行うことについてどう考えるか。
- ・この場合「希少性」の要件は必須となるが「患者数5万人」という目安をどう考えるか。外国との比較で見ると海外ではもう少し広めに対象を考えている。
- ・医療費助成とその他の施策について、希少性の要件に差を設けるかどうか。
- ・医療費負担が高額で、現在の高額療養費制度だけでは対策が不十分な人たちの負担軽減をどう考えるか。
- ・がんなど他の慢性疾患患者と比較して難病患者についてのみ医療費助成を行うことをどう考えるか。
- ・医療費助成の基本的枠組みについて
 - 一定の基準に基づいて対象疾患をしぼりこむことについてどう考えるか。その際、小児慢性特定疾患治療研究事業との関係をどう考えるか。
 - 公正性の確保、認定の適正化のしくみ、指定専門医の診断を要件にする、指定医療機関での受診とすることなどについてどう考えるか。
 - 治療ガイドラインの策定についてどう考えるか。
 - 他制度との均衡から自己負担の見直しを検討する必要があるのではないか。(食事療養費、薬局での保険調剤費、高額所得者、重症患者の一部負担額など。)

- (座長) そもそも医療費助成について、なぜ特定疾患だけが優遇されているのかという点について。それは公費負担することにより数の少ない患者を病院に集める。そのことにより症例データの集積、診断基準の策定につなげることが目的だった。同時に、長期に療養する患者への福祉的側面という2つの目的があった。
- このワーキングからは、できるだけ広くたくさんの疾患を入れるということ以外は出てこない。
- (局長) 現在は法律に基づく事業でなく予算事業として実施している。また事業名としては「治療研究」が前面に出ている。目的は治療研究と医療費助成の二つだが、少なくとも研究の方は進んでいる。
- 医療費助成の目的は、患者の生活が破綻しないように支援していくということ。まずは、患者の生活が破綻しないことを前面に出したうえで制度設計をしてほしい。
- (伊藤) 医療費助成のところでは、希少性疾患という概念をきちんととらえることが必要。現在の56疾患を基本に、同じような条件にあるような疾患、患者は対策に入れるべき。他の慢性疾患と比較しての公平性をいうなら、本来は、一般的な疾患患者も含めての医療費負担軽減を医療保険の高額療養費制度の改善でまず行うべき。公平性とは何をさすのか。治療法でしぼることや他制度との均衡についても、そういう論の建て方がいいのかどうか疑問である。
- (事務局) 公平性、公正性というのは「中間的な整理」のなかで言われている。現在の制度では対象疾患が限られていることでの不公平性が述べられている。今回提示したも

のはすべて「中間的な整理」のなかでの課題から挙げたもの。

- （座長）難病患者には56疾患は手厚いが他の疾患は見捨てられているという意識が強いから、まず（56疾患以外に）必要なものは拾いあげるべき。（疾患概念が）はっきりしていないものをどこまで含めるか。診断を含めたデータをきちんとするという点では指定医療機関（医師）による診断も必要。等々。そういう点を考えると200くらいの疾患を含めるということになるかと思う。
- 公平性の観点では、他の疾患群と比べた公平性、あるいは難病という疾患のなかの公平性の観点は大事。疾患の重さ、重症度にあわせてどう考えるか。これまでの疾患は、研究者による研究班が定めた疾患だった。もっと幅広い観点から対象を定めるべきと思う。制度としては、本来は治療研究と医療費助成は分けて考えるべき。制度の対象と誰が診断するかということでも改善が必要。
- （局長）350億で現在の事業はやっている。今の予算のなかでのやりくりでということではなく、制度化にあって必要な予算はできるだけ確保したいと考えている。
- その場合には他の病気（の人の対策）と差がないようにと。
- その点では危機感をもっている。必要なものをできるだけと言っても、実際には予算確保は難しいのではないか。一定の診断基準は必要。特定疾患治療研究事業は研究よりも福祉的側面が顕著になっておりデータは実質役にたっていない。これをどうするのか。患者への「謝金」であるとさえ言われており、恣性で医療費助成をしているものは見直しをすべき。
- （伊藤）昭和47年の「難病対策要綱」からは、負担の重い患者についての負担軽減をはかることと治療研究に資することを目的となっている。謝金ではない。また、恣性でやられてきた事業ではなく、（患者の命綱として）制度を守るために患者団体がその都度 はたらきかけて努力をしてきたことも事実。その点はひとこと訂正しておきたい。
- （総務課長）法制化の観点からすると、やはり目的や範囲についてはしっかり決めないといけない。
- （伊藤）指定医療機関、診断する医師を指定するという点も、希少疾患の場合は、専門医にたどりつけるかどうか苦勞の種。そのことで対象が限定されることにならないか。
- 同感。行きつけの医師でも説明できるようになるといい。
- この点は医師の責任で医療者側が解決すべき課題。
- 治療ガイドラインというのは一般的な疾患についてが原則。難病にガイドラインを設けるという点はいかがなものか。
- 医療者側の立場からは患者みなさんにご理解いただきたい。炎症性腸疾患患者でも、専門医以外の医師がみて悲惨な結果を招く例もある。指定医制は方向性としてはいいと思う。患者側にも利便性をすすめるための方向性も法制化で必要と思う。
- 重症度に応じてという基準も必要。「難病」という言葉も吟味する必要がある。希少かつ難治ということでよい。
- （座長）ヨーロッパでは医療、介護が社会的に保障されているので、医療費助成や生活支援は問題視されないということもある。（医療費助成は）日本特有の問題ということでもある。今日はここまでにして、次回、議論していただきたい。
- 3）質の向上のための医療提供体制のあり方（略）
- 4）難病研究のあり方（略）

○（事務局）次回第3回難病研究・医療ワーキングは6月中旬を予定。

以上

☆改正障害者基本法に基づく障害者政策委員会メンバーを公表（内閣府）
伊藤JPA代表理事が委員就任。推進会議、総合福祉部会から諸課題引継ぐ

委員は次のとおり（50音順）

浅倉 むつ子（早稲田大学教授）
阿部 一彦（社会福祉法人日本身体障害者団体連合会理事）
石川 准（静岡県立大学国際関係学部教授）
石野 富志三郎（財団法人全日本ろうあ連盟理事長）
伊藤 建雄（一般社団法人日本難病・疾病団体協議会代表理事）
上野 秀樹（社会福祉法人ロザリオの聖母会海上療養所常勤医）
氏田 照子（一般社団法人日本発達障害ネットワーク副理事長）
遠藤 和夫（日本経済団体連合会労働政策本部主幹）
大谷 恭子（弁護士）
大濱 眞（社団法人全国脊髄損傷者連合会副理事長）
尾上 浩二（特定非営利活動法人DPI（障害者インターナショナル）日本会議事務局長）
嘉田 由紀子（全国知事会（滋賀県知事））
勝又 幸子（国立社会保障・人口問題研究所情報調査分析部長）
門川 紳一郎（社会福祉法人全国盲ろう者協会評議員）
川崎 洋子（公益社団法人全国精神保健福祉会連合会理事長）
北野 誠一（特定非営利活動法人おおさか地域生活支援ネットワーク理事長）
清原 慶子（全国市長会（三鷹市長））
後藤 芳一（日本福祉大学客員教授）
佐藤 久夫（日本社会事業大学教授）
新谷 友良（社団法人全日本難聴者・中途失聴者団体連合会常務理事）
関口 明彦（全国「精神病」者集団運営委員）
竹下 義樹（社会福祉法人日本盲人会連合会長）
田中 正博（社会福祉法人全日本手をつなぐ育成会常務理事）
土本 秋夫（ピープルファースト北海道会長）
花井 圭子（日本労働組合総連合会総合政策局長）
中西 由起子（アジア・ディスアビリティ・インスティテート代表）
中原 強（財団法人日本知的障害者福祉協会会長）
藤井 克徳（日本障害フォーラム幹事会議長）
三浦 貴子（社会福祉法人全国社会福祉協議会全国身体障害者施設協議会制度・予算対策委員長）
棟居 快行（大阪大学大学院高等司法研究科教授）

第2回難病研究・医療ワーキンググループ

議事次第 (抜すい)

日時：平成24年 5月18日

14：00～17：00

場所：厚生労働省 専用第14会議室(22階)

1. 開 会

2. 議 事

- (1) 難病の定義、範囲の在り方
- (2) 医療費助成の在り方
- (3) 難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方
- (4) 研究の在り方

3. 閉 会

難病研究・医療ワーキンググループ構成員名簿

氏名	所属・役職
伊藤たてお	日本難病・疾病団体協議会代表理事
葛原茂樹	鈴鹿医療科学大学教授
千葉 勉	京都大学大学院医学研究科消化器内科学教授
福島雅典	(財)先端医療振興財団・臨床研究情報センターセンター長
本間俊典	あせび会(稀少難病者全国連合会)監事
山本一彦	東京大学大学院医学系研究科教授

<配布資料>

資料 1 難病の定義、範囲の在り方

資料 2 医療費助成の在り方

資料 3 難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方

資料 4 難病研究の在り方

参考資料 1 難治性疾患の定義について

参考資料 2－1 特定疾患治療研究事業の概要

参考資料 2－2 日・米・欧における難病及び希少性疾患の定義と規定

参考資料 2－3 小児慢性特定疾患治療研究事業の概要

参考資料 2－4 指定医師・指定医療機関の例

参考資料 2－5 特定疾患治療研究事業について（昭和 48 年衛発第 242 号）、
特定疾患医療費として負担すべき範囲について（昭和 57 年衛難第 5 号）

参考資料 2－6 自己負担に係る他制度との比較表

参考資料 3－1 現行の難病医療連絡協議会・難病医療拠点病院・難病医療
協力病院の概要

参考資料 3－2 現行の特定機能病院の概要と特定疾患治療研究事業との関
係について

参考資料 3－3 現行の特定疾患調査解析システムの概要図

参考資料 4－1 難治性疾患克服研究事業について

参考資料 4－2 福島構成員提供資料

参考資料 5－1 社会保障・税一体改革大綱【難病関係部分抜粋】

参考資料 5－2 今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）（抄）

難病の定義、範囲の在り方

「難病」の定義、範囲に関する論点として、以下の事項が考えられるのではないか。

(1) 「難病」の定義

- 難病対策として取り上げるべき疾病の範囲については、「難病対策要綱」(昭和47年10月厚生省)において、①原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少ない^(くは)疾病、②経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病との整理が示されている。

一方、特定疾患の定義については、「今後の難病対策の在り方について」(中間報告)(平成14年8月23日厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会)において、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)の4要素が示されている。

両者を比較した場合、いわゆる希少性の要件について差が見られるが、どう考えるか。

- 「難病」の範囲(外縁)を明確化するためには、国内学会等で承認された診断基準が一応確立している等、疾患概念が明らかであることが必要ではないか。

(2) 障害者総合支援法案との関係

- 現在国会審議中の「地域社会における共生の実現に向けて新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律案」では、障害者の範囲に、難病等により障害がある者が加えられ、障害者総合支援法案の第4条第1項において、「治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者であって十八歳以上であるもの」が新たに規定されることとなっている。

難病対策における「難病」の定義と、この政令で定める疾病の範囲との関係をどう考えるか。

医療費助成の在り方

1. 医療費助成を行う考え方

(1) 現行の特定疾患治療研究事業の目的

原因が不明であって、治療方法が確立していない、いわゆる難病のうち、特定疾患については、治療がきわめて困難であり、かつ、その医療費も高額であるので、特定疾患治療研究事業を推進することにより、特定疾患に関する医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図ることを目的とする。

(参考) 特定疾患医療受給者証（裏面）

厚生労働科学研究難治性疾患克服研究事業（臨床調査研究分野）の対象疾患のうち、診断基準が一応確立し、かつ、難治度及び重症度が高く、さらに、患者数が比較的少ない疾患について公費負担により受療を促進することによって、その原因を究明し、もって治療方法の開発等に資することを目的としています。

(2) 検討すべき課題

- 「難病」は、発症する確率は非常に低いものの、国民の誰もが発症する可能性がある。

また、「難病」は症例数が少なく、各医療機関・研究機関の個別の研究に委ねていては必要な症例が不足し、その原因の究明、治療方法の開発等に困難をきたすおそれがある。

こうした観点から、医療費助成を行うことにより患者の受療を促進するとともに、治療研究を推進する観点から、希少な症例の全国的なデータの集積を行うことについてどう考えるか。【社会的・公共的な側面】

- 希少な症例の全国的なデータの集積を行う観点から見た場合、現行のよう
に原則として対象疾患の患者すべてに医療費助成を行うことについて
どのように考えるか。
- 上記のような考え方を採る場合、希少性の要件は必須となるが、その際、
平成9年3月に出された「特定疾患対策懇談会 特定疾患治療研究事業に
関する対象疾患検討部会報告」において、国内の患者数が概ね5万人未満
を目安とすることが適当という考え方が示されていることについて、どう
考えるか。

- 米国及び欧州における「希少疾患」の「希少性」の判断基準からすれば、「国内の患者数が概ね5万人未満」という我が国の基準は、適当なのか。
- 医療費助成とその他の施策において希少性の要件に差を設けることは考えられるか。
- 他方、「難病」に罹患した患者の中には重篤かつ慢性の症状に苦しみ、治療法が未確立のため、その治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となっている者が存在する。
このため、一般的な高額療養費制度だけでは十分な負担軽減を図ることができず、医療費助成により患者の医療費の更なる負担軽減を図ることについてどう考えるか。【福祉的な側面】
- 高額となる医療費の負担軽減の観点から見た場合、がんなど他の慢性疾患と比較して難病についてのみ、医療費助成することについてどのように考えるか。

2. 医療費助成の基本的枠組み

<検討すべき課題>

- 公平性の確保の観点から、「難病」の定義、範囲に関する基本的な考え方を踏まえつつ、現行のように医療費助成の対象疾患を絞り込むのではなく、一定の基準（例えば、重症度）に基づき対象患者を認定することについてどう考えるか。その際、小児慢性特定疾患治療研究事業との関係についてどう考えるか。
- 公正性の確保の観点から、認定の適正化を行う必要があるが、どのような仕組みが考えられるか。例えば、あらかじめ指定された専門医の診断を要件とすることや指定医療機関での受診とすることについてどう考えるか。また、疾患ごとの治療ガイドラインを策定することにより治療の標準化を行うことについてどう考えるか。
- 他制度との均衡の確保の観点から、給付水準（公費で負担される額）の見直しを検討することについてどう考えるか。

<主な検討事項>

- ・ 入院時食事療養費、入院時生活療養費
- ・ 薬局での保険調剤
- ・ 対象患者が負担する一部負担額（高額所得者、重症患者の取扱い）

難治性疾患の定義について

I 難病対策要綱（昭和47年10月）＜抜粋＞

いわゆる難病については、従来これを統一的な施策の対策としてとりあげていなかったが、難病患者のおかれている状況にかんがみ、総合的な難病対策を実施するものとする。

難病対策として取り上げるべき疾病の範囲についてはいろいろな考え方があるが、次のように整理する。

- (1) 原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病
(例：ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス)
- (2) 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病（例：小児がん、小児慢性腎炎、ネフローゼ、小児ぜんそく、進行性筋ジストロフィー、腎不全（人工透析対象者）、小児異常行動、重症心身障害児）

対策の進め方としては、次の三点を柱として考え、このほか福祉サービスの面にも配慮していくこととする。

- 1) 調査研究の推進
- 2) 医療施設の整備
- 3) 医療費の自己負担の解消

なお、ねたきり老人、がんなど、すでに別個の対策の体系が存するものについては、この対策から、除外する。

(※) 昭和47年 ○スモン、○ベーチェット病、○重症筋無力症、○全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、難治性肝炎 からスタート
(○は医療費助成の対象) ※昭和49年の受給者数（対象10疾患）は17,595人

II 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会最終報告

（平成7年12月27日）＜抜粋＞

2 今後の特定疾患対策の基本的方向

- (1) 特定疾患対策の重点的かつ効果的な施策の充実と推進を図るため、①希少性、②原因不明、③効果的な治療方法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）、という4要素に基づき対象疾患として取り上げる範囲を明確にすることが必要である。

Ⅲ 特定疾患対策懇談会・特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会 報告（平成9年3月19日）＜抜粋＞

調査研究事業対策疾患の選定基準

① 希少性

患者数が有病率から見て概ね5万人未満の疾患とする。

② 原因不明

原因又は発症機序（メカニズム）が未解明の疾患とする。

③ 効果的な治療方法未確立

完治に至らないまでも進行を阻止し、又は発症を予防し得る手法が確立されていない疾患とする。

④ 生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）

日常生活に支障があり、いずれは予後不良となる疾患或いは生涯にわたり療養を必要とする疾患とする。

⑤ その他

がん、脳卒中、心臓病、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神疾患などのように別に組織的な研究が行われているものについては、効率的な研究投資の観点から従来のおり本調査研究事業から除くべきである。

IV 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・今後の難病対策の在り方について（中間報告）（平成14年8月23日）＜抜粋＞

4. 今後の特定疾患の定義と治療研究事業対象疾患の選定の考え方

（1）特定疾患の定義について

現在、特定疾患については、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究が行わなければならない、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）の4要素を満たす疾患の中から、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、健康局長の私的諮問機関である特定疾患対策懇談会における専門的な意見を踏まえて決定されており～（中略）～

平成14年7月現在、特定疾患としては、厚生労働科学研究の一分野である対策研究事業において118の対象疾患が選定され、約60の研究班において病態の解明や治療法の開発に関する研究が行われている。さらに、これらの特定疾患の中で、診断基準が一応確立している疾患の中から原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、特定疾患対策懇談会の意見を踏まえて、45疾患が順次選定され、研究とともに患者の医療費の負担軽減を行っている。

なお、がん、脳卒中、虚血性心疾患、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神心疾患などのように既に組織的な研究が行われているものについては、研究への効率的な投資の観点から本事業の対象から除外されている。

これまで、患者数が少ないために研究体制の構築が困難な難治性疾患に重点化した特定疾患対策が、疾患の原因究明や治療法開発に貢献してきたことは評価に値するものであり、今後の難病対策を考える上でも、難治性疾患の原因解明や治療法の開発に関する施策に関しては、上記①～④の要件を基本とすることが適当である。（中略）

また、「希少性」の要件については、平成9年3月に出された「特定疾患対策懇談会特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告」において、国内の患者数が概ね5万人未満を目安とすることが適当という考え方が示されているが、重点的・効率的な研究への投資の観点から引き続きこれを基本として対象疾患の選定を行うことが適当である。

なお、対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、特定疾患に指定された当時と比較して治療成績等の面で大きく状況が変化したと考えられる疾患については、当該疾患に対する治療成績をはじめ患者の療養環境の改善等総合的な観点から、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことについて検討する必要がある。

日・米・欧における難病及び希少性疾患の定義と規定

	日 本	米 国	欧 州
呼称	難病	希少疾患 (Rare Disease)	希少疾患 (Rare Disease)
定義	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性 約42人/10万人未満 (患者数が概ね5万人未満※1) ・原因不明 ・効果的な治療法が未確立 ・生活面への長期にわたる支障 (長期療養を必要とする) 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性 65人/10万人未満 (患者数が20万人 未満) ※日本に当てはめると7.7万人 ・有効な治療法が未確立 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性 50人/10万人以下 (患者数が5/1万人以下) ※日本に当てはめると6.0万人 ・有効な治療法が未確立 ・生活に重大な困難を及ぼす、非常に重症な状態
関連法規	難病対策要綱 (1972) 薬事法等の改正※2 (1993)	希少疾患対策法 Rare Diseases Act of 2002 (2002) 希少疾病医薬品法Orphan Drug Act (1983)	欧州連合理事会勧告 (2009) 欧州希少医薬品規制 Orphan Medicinal Product Regulation (1999)

注1) 薬事法第77条の2において希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器と指定する要件として、「対象者の上限を5万人」とされている。

注2) 希少疾病用医薬品の研究開発促進を目的とした薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究新興基金法の改正

自己負担に係る他制度との比較表

参考資料2-6

項目	特定疾患治療研究事業	高額療養費制度	自立支援医療
所得区分による負担軽減措置状況	<p>・特定疾患治療研究事業では、所得税課税状況に応じてA階層からG階層の7区分による入院・外来別の自己負担上限による軽減措置を適用。</p> <p>※小児慢性疾患克服研究事業は、所得税額等の課税状況に応じ8区分による入院入院・外来別の自己負担限度額が適用される（特定疾患治療研究事業の自己負担額の半分）。</p>	<p>・高額療養費制度（家計に対する医療費の自己負担が過重なものとならないよう、月ごとの自己負担限度額を超えた場合に、その超えた金額を支給する制度）</p> <p>＜70歳未満の方の自己負担限度額＞ 低所得、一般所得、上位所得の3区分。</p> <p>＜70歳以上の方の自己負担限度額＞ 低所得Ⅰ、低所得Ⅱ、一般、現役並み取得の4区分。</p> <p>※高額療養費制度では、世帯合算や多数回該当といった仕組みにより、さらに最終的な自己負担額が軽減される。</p> <p>＜高額長期疾病の方の自己負担限度額＞ ・血友病、血液凝固因子製剤の投与に起因するHIV感染症、慢性腎不全（人工透析）については、通常の場合より低い自己負担限度額を設定。</p>	<p>・自立支援医療においては、利用者負担が過大なものとならないよう、所得に応じて1月当たりの負担額を設定。（これに満たない場合は1割）</p> <p>＜更生医療・精神通院医療＞ 生活保護、低所得Ⅰ、低所得Ⅱ、中間所得の4区分ごとに自己負担上限の軽減措置がある。</p> <p>＜育成医療＞ 生活保護、低所得Ⅰ、低所得Ⅱ、中間所得Ⅱの5区分ごとに自己負担上限の軽減措置がある。</p>
高額所得者の取扱い	<p>・高額所得者であっても、自己負担上限額が適用される。</p>	<p>・高額所得者であっても、自己負担上限額が適用される。</p>	<p>・一定所得以上の者は対象外となり、医療保険の高額療養費制度が適用される。</p> <p>ただし、下記の「重度かつ継続」に該当する場合は、一定所得以上の者であっても、自己負担上限額が適用される。</p>
重症患者の取扱い	<p>・対象疾患（56疾患）を主な要因として、身体の機能障害が持続し又は長期安静を必要とする状態にあるため、日常生活に著しい支障があると認められる重症患者は自己負担なし。</p> <p>※小児慢性特定疾患治療研究事業においても重症認定された場合には、自己負担なし。</p>	—	<p>・「重度かつ継続（費用が高額な治療を長期にわたり継続しなければならぬ者）」は、中間所得（Ⅰ・Ⅱ）、一定所得以上の区分ごとに自己負担上限の軽減措置が適用される。</p>
入院時の食事療養・生活療養の取扱い	<p>・自己負担なし。</p>	<p>・自己負担あり。</p>	<p>・自己負担あり。 ※生活保護及び生活保護移行防止のため減免措置を受けた者については自己負担なし。</p>
院外調剤の自己負担の取扱い	<p>・自己負担なし。</p>	<p>・自己負担あり。</p>	<p>・自己負担あり。 ※所得に応じて1月当たりの負担額を設定（これに満たない場合は1割）。</p>
介護保険サービスを受けた場合の自己負担の取扱い	<p>・訪問看護及び介護予防訪問看護等については、自己負担なし。</p>	—	<p>・自己負担あり。 ※所得に応じて1月当たりの負担額を設定（これに満たない場合は1割）。</p>

JPA事務局ニュース <No.51> 2012 年 6 月 5 日

＜発行＞ 一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会(JPA)事務局
〒162-0822 東京都新宿区下宮比町 2-28 飯田橋ハイタウン 610 号
TEL03-6280-7734 FAX03-6280-7735 jpa@ia2.itkeeper.ne.jp
J P A ホームページ <http://www.nanbyo.jp/>

☆5 月 25 日に開かれた第 2 回難病在宅看護・介護ワーキンググループの概要を紹介します。

＊ 資料は既に厚生労働省ホームページで公表されています。

<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002bm5m.html>

＊ このメモは事務局の傍聴メモに基づいて整理したものであり、議論の様子をできるだけ早く伝えることを重視し、私の責任で公表しました。細かなニュアンスなどは、後ほど出される正式な議事録を参照してください。(水谷幸司)

5 月 29 日に開かれた「難病在宅看護・介護等ワーキンググループ」は、難病相談・支援センターや難病手帳（仮称）の在り方など 4 項目について、伊藤たてお構成員ら 6 名が、次回（6 月 15 日予定）のとりまとめに向け、意見を出し合いました。

注）伊藤発言は●

(1) 在宅看護・介護・福祉の在り方

○在宅は、患者が通院できるか出来ないかで対応が違ふ。通院できない患者の在宅看護は、専門医師と地域の主治医の連携が大切。地域により在宅看護のサービス内容が違ふ。良いサービスを提供している地域の例を学んでいってほしい。東京都の人工呼吸器装着者の調査では、70%が在宅者。市町村により対応に差がある。

●病院に居られないため在宅に追いやられるということを懸念している。在宅を強調するあまり入院はよくないというのは困る。システムが先につくられそれにあわせて対応するのではまずい。地域の特定にあわせたものにしていく必要がある。

○基幹病院と連絡協議会を充実させることは良いが、人的確保や財政の裏づけはあるのか。

○制度が出来れば、財政や要員は確保する。ここでの検討は、どれが必要か不要かを検討してもらうことで、財政は制度が決まれば確保できる。

○難病全て(神経難病以外も)に拠点病院は機能するのか。

○基幹病院はすべての難病に対応したいと考えている。

●介護保険との関係について、介護保険「特定疾患」の範囲を拡大して欲しいとの声がある。また、障害の判定時期については、難病は状態が変動するので、薬を服用していない時を反映するなど柔軟なものを盛り込んで欲しい。

○障害の認定は、原因疾患に関係なく病状が固定し残った障害の程度をみてきた。病気の特徴である疲れやすさ、しびれ、痛み、外見上の障害は認定されていない。これらを考慮に入れてほしい。

○療養通所介護によるレスパイトは効果的で非常によいが、採算がとれないために広がらない。また、神経難病以外が支援を受けられない点の配慮も必要。

○在宅医療の安全性を高めていく必要がある。災害対策も市町村が主体の対策であるが、市町村に任せられない部分もある。レスパイト入院など対応しにくいサービスも検討してほしい。

●外から見て分からない障害(内部障害など)の患者にも十分なサービスがほしい。

○コミュニケーション支援もサービスに入れてほしい。

●ヘルパー研修については、担い手を減らすようなものでは賛成できない。現行の2段階のままで。

(2) 難病相談・支援センターの在り方

●医療機関や行政が対応できない部分を相談・支援センターは担っている。すべての難病をカバーし、疾病を限定すべきではない。医療相談を医療機関で対応する、という点については、医療機関で出来ているなら当センターはいらない。医療に関わるものを含めて患者会では医療相談と呼び対応していることを強調しておきたい。

○対象の限定はある程度必要。限定しないと、一人しかいない支援員が多く、現場は厳しい。ただし、これは相談を受けないという意味ではない。しかるべき相談先を紹介しているし、ネットワークをつくって紹介していくことが必要。

○多職種で支えること、たとえばMSWの機能を高めることなども大切。

●運営主体について、重要なのは(どこが担おうと)実施要綱に沿っているか、ということ。職員について、国家資格取得者でないといけないとは考えない。患者の視点にたった支援ができることが重要。

(3) 難病手帳(仮称)の在り方

●患者会の意見をきく場を設けてはどうか。身障手帳を持っている内部障害者のこと、手帳がよいのか受給者証であるべきか、このWGとは別に検討する機会を。

○総合支援法案は、身障手帳が取得できない難病患者を対象にすることになる。身障手帳ではカバーできない難病患者を、難病手帳(仮称)でカバーしてはどうか、という考えについて意見をききたい。

○ハローワークでは、受給者証がない場合は診断書でよしとされているが、診断書を取り

にいくのも困難な場合がある。疾病名を身障手帳に記載してはどうか。

○身障手帳は原因疾患を問わない。しかし、難病手帳となると原因疾患の明記は必要。精神保健手帳は、個別機能で取得できるようにし、診断したうえで生活支援の障害程度を等級で示している。

●（身障手帳に代わる）何らかのものは必要だと思う。

○身障手帳を取得することで患者は自分が障害者になったと思う。しかし、これはサービス利用のパスポートだと現場では説明しているが、難病の場合も、なぜ取得するのかを議論すべき。既存の身障手帳の中で広げるべきと考える。病名と区分を加えるべき。

○前意見に賛成。対象を限定するなら難病手帳はやらないほうがよい。

●（手帳に）重症度と写真を載せることは反対。

（4）就労支援の在り方

○支援体制は整いつつある。問題は企業。大きなところは難病患者を雇用するイメージが描けないようだ。政府広告機構のコマーシャルのようなPRも必要では。これ以上の就労支援を相談・支援センターで行うは限界。

○ハローワークの取組みが拡大してきた。難病センターがハローワークの役割を持つことは出来ない。難病患者は生活・就労・医療の連携を望んでいる。

○民間の人材あっせん会社を活用すべき。マッチングなど幅広い。そのような会社へ補助金を。

●問題あるところもあるときく。慎重にすべき。

○全体の意見として、難病患者へのアンケートでは、「病人ではあるが障害者ではない」との意見が目立つ。障害者というレッテル貼りとならないよう十分な配慮を。

以上（まとめ・宮永恵美）
