

## 今後の難病対策の在り方（中間報告）

平成24年8月16日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

## はじめに

我が国の難病対策は、昭和47年に策定された「難病対策要綱」を踏まえ、①「調査研究の推進」、②「医療機関の整備」、③「医療費の自己負担の軽減」の三点を柱として進められ、平成元年度に④「地域保健医療の推進」が加えられ、また、平成8年度に「地域保健医療の推進」が「地域における保健医療福祉の充実・連携」とされ、⑤「QOLの向上を目指した福祉施策の推進」が加えられた。現在、この5本の柱に基づき、各種の事業を推進している。

その結果、難病の実態把握や治療法の開発、難病医療の水準の向上、患者の療養環境の改善及び難病に関する社会的認識の促進に一定の成果をあげてきた。

しかしながら、医療の進歩や患者及びその家族のニーズの多様化、社会・経済状況の変化に伴い、原因の解明すら未確立の疾患でも研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがあることなど難病の疾患間で不公平感があることや、難病に対する普及啓発が不十分なこと等により国民の理解が必ずしも十分でないこと、難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分であることなど様々な課題が指摘されており、難病対策の見直しが強く求められている状況にある。

そのため、本委員会は、今後の難病対策の在り方について昨年9月より審議を行い、12月には「今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）」を取りまとめた。この中間的な整理においては、「希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい」ことを基本的な認識とした。

この中間的な整理を基に、その後も、「社会保障・税一体改革大綱」（平成24年2月17日閣議決定）や難病研究・医療ワーキンググループ及び難病在宅看護・介護等ワーキンググループにおける検討状況の報告も踏まえ、「難病対策の必要性と理念」、「難病」の定義、範囲の在り方、「医療費助成の在り方」、「福祉サービスの在り方」、「難病相談・支援センターの在り方」、「難病手帳（カード）（仮称）の在り方」、「難病研究の在り方」、「難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方」、「就労支援の在り方」、「難病を持つ子どもへの支援の在り方」、「小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行（トランジシ

ョン)する場合の支援の在り方」の各々の項目について議論を行い、論点・課題の整理を行った。

今般、これまでの検討結果を「今後の難病対策の在り方(中間報告)」として取りまとめたので報告する。

## 1. 難病対策の必要性と理念

- いわゆる難病は、まれではあるが国民の中に一定の割合で発症する可能性のあるものである。難病患者は、治療方法が確立していない疾患に罹患し、往々にして生涯にわたる長期間の療養を必要とすることから、生活面における制約や経済的な負担が大きい。また、病名や病態が知られていないために、社会の理解が進んでおらず、就業など社会生活への参加が進みにくい状態にある。
- このため、難病対策の見直しに当たっては、難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。また、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指し、中間的な整理で示した「今後の難病対策の見直しの方向性」を踏まえ、時代に合った新たな難病対策の構築を目指す。

## 2. 「難病」の定義、範囲の在り方

- 総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義については、「難病対策要綱」(昭和47年10月厚生省)をも参考にしつつ、できるだけ幅広くとらえるべきである。一方で、個別施策の対象となる疾病の範囲については、広く国民の理解を得られるよう、それぞれの施策の趣旨・目的等も踏まえ、比較的まれな疾病を基本に選定すべきである。
- 今後、「難病」の定義については、個別施策の対象となる疾病の範囲の議論を深めつつ、引き続き検討する。

## 3. 医療費助成の在り方

### (1) 基本的な考え方

- 現行の「特定疾患治療研究事業」は、患者の医療費負担の軽減という福祉的な面を持つものの、その主たる目的は、難治性の疾患を克服するための治療研究の推進にある。
- しかしながら、本施策については、患者等からは、福祉的施策ととらえられている現状もあり、できるだけ安定的な仕組みとすることが必要との指摘もなされている。このような観点から、今後、福祉的な面をどのよう

に位置づけるか、また、そのための財源をどう確保していくかを含め、本施策の在り方について検討する必要がある。

- なお、検討に当たっては、がんなど他の慢性疾患との関係等を含め、改めて本施策の趣旨・目的を整理し、公平性の観点から、広く国民の理解が得られるものとする必要がある。

## (2) 基本的な枠組み

### ① 対象疾患の在り方

- 医療費助成の対象疾患については、「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）においてまとめられた、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要素を基本的には踏襲することが適当である。
- 対象疾患の範囲の拡大を含めた見直しにあたっては、より公平に対象疾患を選定する必要がある。一方で、効果的な治療方法が確立するなど治療成績等の面で状況の変化が生じた対象疾患については、引き続き対象疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価し、見直していくことも必要である。
- このため、対象疾患の選定及び見直し方法について具体的に検討し、広く国民の理解を得られる公平な仕組みとすることが必要である。その際、同じような性格の疾患にもかかわらず、疾患名の違いにより対象疾患の選定に差が生じることがないようにする必要がある。
- また、対象患者の範囲については、重症度等の基準を設定することが必要であり、具体的な基準の内容について検討する必要がある。
- 対象疾患の具体的な範囲については、現在、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」において調査・分析を行っており、その結果等も参考に、今後更に検討する。

### ② 対象患者の認定等の在り方

- 医療費助成の対象疾患に罹患しているかどうかについては、専門医が診断基準に基づき的確に診断すべきであり、自治体の指定を受けた専門医の診断を要件とすることが必要である。また、良質かつ適切な医療を受けられるようにするため、緊急時を除き、自治体の指定を受けた医療機関で受診した場合に医療費助成を行うこととする必要がある。

この場合、病気の診断や治療の質等の担保と患者の利用のしやすさとの両立をどのように図るかについて留意する必要がある。

- 科学的根拠に基づく治療の適正化を行うため、疾患ごとの治療ガイドラインを策定し、周知徹底することが必要である。

その際、様々な新しい治療の試みを縛ってしまわないような配慮も必要である。

- 医療費助成の対象となる医療の範囲については、対象疾患及び対象疾患に付随して発現する傷病に対する医療に限定し、対象疾患に関係しない医療は対象外とする必要がある。

- 医療費助成を受ける前提として、本施策の目的である治療法の開発研究等に役立てるため、引き続き患者データの提供が行われるようにする必要がある。

この場合、精度の向上や有効活用の観点から、現行の臨床調査個人票の内容及びデータ収集の方法については見直しを行う必要がある。

なお、収集される患者データは災害時の対応等にも役立て得る正確なものとするべきとの意見があった。

- 医療費助成の認定手続きができるだけ患者や医療関係者、自治体の負担とならないよう検討する。

### ③ 給付水準の在り方

- 難病の特性を踏まえつつ他制度との均衡を図るとともに、施策の安定性を確保し、国民の理解を得られるよう、給付水準（公費で負担される額）の見直しを検討する必要がある。

<主な検討事項>

- ・ 入院時の食事及び生活に係る自己負担
- ・ 薬局での保険調剤に係る自己負担
- ・ 対象患者が負担する一部負担額（重症度基準、高額所得者、重症患者の取扱い等）

## 4. 福祉サービスの在り方

- 「障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律」（以下「障害者総合支援法」という。）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も、障害児・者の範囲に加えられたことから、平成25年4月以降、障害者総合支援法に基づく障害福祉サービスに係る給付対象となる。

なお、児童福祉法上の障害児通所支援及び障害児入所支援についても同様の取扱いとなる。

- 障害者総合支援法の「治療方法が確立していない疾病」であって「政令で定めるもの」の疾病の具体的な範囲については、現在、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」において調査・分析を行っており、その結果等その他、新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲も参考にしつつ、障害者総合支援法の施行に向け、検討する。
- 障害程度区分の認定に当たっては、難病ごとの特性（病状の変化や進行等）についてきめ細かく配慮する必要がある。

## 5. 難病相談・支援センターの在り方

- 難病相談・支援センターは、すべての難病を幅広くカバーし、あらゆる相談に自ら対応するばかりではなく、医療、福祉、行政など様々な機関と連携し、患者を適切なサービスに結びつけていく役割を担う必要がある。特に、医療機関、保健所、就労支援機関、子どもの相談支援機関等との連携の強化を図る必要がある。
- 難病相談・支援センターは、引き続き都道府県ごとに設置することとし、その運営は地域の実情に合わせて委託できることとするが、どの都道府県においても基本的な機能を果たせるような体制を確保する必要がある。
- 難病相談・支援センターの質の向上のため、職員の研修等を充実させるとともに、全国の難病相談・支援センターが連携し、互いに支援しあうことも必要である。
- 同じ病気の人々の経験を聞く（ピアサポート）など患者の視点に立った相談・支援が行われるよう留意することが必要であり、そのためにも、患者間の相互支援の取組や相談・支援を担う人材の育成が重要である。
- 各都道府県の難病相談・支援センターの中心的な機能を担うセンターの在り方について検討する。

## 6. 難病手帳（カード）（仮称）の在り方

- 昨年の障害者基本法改正により、障害者の定義が見直され、「身体障害、知的障害、精神障害（発達障害を含む。）その他の心身の機能の障害（以下「障害」と総称する。）がある者であつて、障害及び社会的障壁により継続的に日常生活又は社会生活に相当な制限を受ける状態にあるもの」とされ、難病に起因する障害についても「その他の心身の機能の障害」に含まれると解されている。
- 身体障害、知的障害及び精神障害については、既に手帳制度が設けられているところ、難病手帳（カード）（仮称）の在り方については、その目的、効果、事務負担等を他制度の例も参考にしつつ、今後更に検討する。

## 7. 難病研究の在り方

### (1) 難病研究の対象

- 難病研究の対象については、引き続き、診断基準が確立されていないものも含め対象とすべきである。
- 現行の130疾患を指定し研究対象とする「臨床調査研究分野」とそれ以外の希少難治性疾患を研究対象とする「研究奨励分野」の区分けについては、総合的な難病対策を構築する際に根本的に見直すべきである。

### (2) 難病研究の重点化

- 診断基準の作成や病態解明等に加え、研究の最終目標として、治療法開発、創薬を重点的に目指すべきであり、特に医師主導治験を行う創薬実用化研究を推進する必要がある。
- 製薬企業等が難病の治療薬の開発に積極的に参加しやすくなるための環境整備が必要である。

### (3) 患者の参加と研究成果の還元

- 難病患者が治験を含めた研究に参加しやすくなるような仕組みが必要である。
- 研究の進捗状況や成果を患者、国民にわかりやすく伝えることが必要である。

### (4) 総合的な難病研究の実施と国際協力の推進

- 関係各省、関係者が一体となった難病研究開発の総合戦略が必要である。
- 難病の病態解明、治療方法の開発、創薬研究を促進するため、欧米をはじめとした国際協力を進めることが必要である。また、患者団体間の国際連携も重要である。

## 8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方

### (1) 「新・難病医療拠点病院（仮称）」の整備

- どこに行っても診断がつかない、治療経験のある医師が見つからない等の難病患者が医療を受ける上での困難を克服するため、都道府県は、現在の難病医療拠点病院をさらに発展させ、医療費助成のために指定された医療機関の中から、難病の診断・治療に関して高い専門性と経験を有する拠点的な医療機関（新・難病医療拠点病院（仮称））を整備することが必要である。（医療費助成は必ずしも「新・難病医療拠点病院（仮称）」での診断・治療に限定するものではない。）
- 「新・難病医療拠点病院（仮称）」には、概ねすべての疾患領域に対応し得る「総合型（仮称）」と特定の疾患群について専門性の高い「特定領

域型（仮称）」を含める必要がある。

(2) 難病患者の長期にわたる治療・療養を支える体制（環境）の整備

- 様々な病態やステージにある難病患者に対し、長期にわたり適切な外来・入院医療を提供するためには、「新・難病医療拠点病院（仮称）」等の一部の限定された医療機関だけでなく、地域の様々な専門性・役割を持つ医療費助成のために指定された医療機関が連携し、難病医療を担う必要がある。また、連携を促進する手段として、例えば、連携パスのような仕組みを構築することも有用である。
- 難病患者が地域で包括的な医療、看護、介護サービスを受けることができるよう、都道府県は、現在の難病医療拠点病院や難病医療協力病院をさらに発展させ、医療費助成のために指定された医療機関の中から、地域の実情を踏まえつつ、概ね二次医療圏に1か所程度「難病医療地域基幹病院（仮称）」を整備し、「新・難病医療拠点病院（仮称）」や地域の様々な医療機関と連携し、地域で難病医療・福祉サービスを提供する人材の育成や入院・療養施設の確保を進める必要がある。
- 現在の難病医療専門員をさらに発展させ、「難病医療地域基幹病院（仮称）」等に、在宅難病患者の地域の医療機関等での受け入れ調整や入院患者の退院調整等を行う難病医療コーディネーター（仮称）を置くことも有用と考えられる。
- 地域で生活する難病患者が安心して療養できるよう、地域の診療医、看護、介護、福祉サービスの担い手の量及び質を高めるとともに、関係機関のネットワークを充実させる必要がある。このため、地域の特性を把握し、難病患者に対する支援体制を整備するため、現在の地域の取組をさらに発展させ、保健所を中心とした「難病対策地域協議会（仮称）」を設置することについて検討する。
- 特に極めて希少な疾患については、全国的にも患者数が数名という場合もあり、これら希少疾患に対し高度専門的な対応ができるセンター（難病治療研究センター（仮称））の在り方について検討する。
- 難病医療・福祉サービスの地域間格差を是正するため、医療福祉従事者の教育研修、患者・家族を含む関係者間のネットワークによる情報共有、助言・協力等を促進する必要がある。
- 難病患者・家族が地域で安心して生活し続けることができるよう、難病の在宅医療・看護・介護の在り方について、当事者も参画の上、引き続き、研究・検討する。さらに、コミュニケーション支援、災害対策、レスパイトの場の確保、在宅療養の安全確保等、難病患者の特殊性に配慮した支援についても考える必要がある。

## 9. 就労支援の在り方

- 難病患者の就職・復職や就職後の雇用管理については、まずは、難病に関する知識（通院への配慮等）や既存の支援策（難治性疾患患者雇用開発助成金（注）等）の普及啓発が重要であり、事業主や関係機関への周知が必要である。
- 加えて、既存の支援策の充実や難病相談・支援センターと就労支援機関等の関係機関との連携体制の強化を行うべきである。

また、民間の職業紹介事業者等の活用について検討すべきとの意見があった。

（注）難病のある人の雇用を促進し、職業生活上の課題を把握するため、難病のある人をハローワークの職業紹介により常用労働者として雇い入れ、雇用管理に関する事項を把握・報告する事業主に対する助成を行うもので、平成21年度に創設。

## 10. 難病を持つ子どもへの支援の在り方

- 難病相談・支援センターにおいて、子どもの相談支援機関や小児の難病に対応できる医療機関等と連携しつつ、難病の子どもや保護者の相談（学校との連携、社会性の育成等を含む）に引き続き対応すべきである。
- 治療研究において、小児の難病の研究も引き続き行うべきである。また、極めて希少な疾患に高度専門的な対応ができるセンターの検討に際して、小児の極めて希少な難病についても考慮すべきである。
- 「新・難病医療拠点病院（仮称）」の「特定領域型（仮称）」に小児の難病に対応できる医療機関を含めるとともに、「総合型（仮称）」において小児の難病への対応及び必要に応じて小児期の担当医師と成人疾患を担当する医師との連携を図るべきである。また、連携を促進する手段として、例えば、連携パスのような仕組みを構築することも有用である。
- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児期の難病患者の特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要がある。

## 11. 小児慢性特定疾患治療研究事業（注）の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行（トランジション）する場合の支援の在り方

- 患者は小児から成人にかけて継続して治療が必要となる場合もあることから、切れ目のない支援の在り方を検討すべきである。
- 小児期に発症する難病の成人後の医療・ケアに携わる医療従事者に対する研修等を行うとともに、小児期からの担当医師等との連携を促進する必要がある。

- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者については、小児期に長期の療養生活を余儀なくされてきたなどの特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要がある。
- (注)「治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となり、これを放置することは児童の健全な育成を阻害することとなる」疾患を対象として、医療保険の自己負担分を公費で助成している。対象年齢は18歳未満であるが、18歳になるまでに認定を受けており、引き続き治療が必要と認められる人については、20歳未満まで延長されている。

## おわりに

本委員会は、総合的な難病対策の在り方について審議を行い、本中間報告をとりまとめた。

本委員会の中間報告に対して、関係各方面からの積極的な御意見を期待するとともに、本委員会としても、総合的な難病対策の構築を目指し、さらに専門的な立場から検討を続けていきたい。

なお、行政関係者におかれては、この中間報告に記載された事項のうち、法制化の要否の検討が必要なものについては、早急に検討作業に取り組んでいただくよう要請する。

今後、本委員会としては、これまでの審議経過を踏まえ、厚生科学審議会疾病対策部会へ報告を行い、さらに事務局より今後の検討課題及びその手順について整理を得た上で検討を進め、本委員会としての最終報告を厚生科学審議会疾病対策部会に提出することとしたい。