

# 指定難病患者データベース及び 小児慢性特定疾病児童等データベース について

# 1. 指定難病患者データベースについて

# 難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年5月23日成立）

## 趣旨

持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律に基づく措置として、難病の患者に対する医療費助成（注）に関して、法定化によりその費用に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な制度を確立するほか、基本方針の策定、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業の実施等の措置を講ずる。

（注）これまでは法律に基づかない予算事業（特定疾患治療研究事業）として実施していた。

## 概要

### (1) 基本方針の策定

- 厚生労働大臣は、難病に係る医療その他難病に関する施策の総合的な推進のための基本的な方針を策定。

### (2) 難病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

- 都道府県知事は、申請に基づき、医療費助成の対象難病（指定難病）の患者に対して、医療費を支給。
- 指定難病に係る医療を実施する医療機関を、都道府県知事が指定。
- 支給認定の申請に添付する診断書は、指定医が作成。
- 都道府県は、申請があつた場合に支給認定をしないときは、指定難病審査会に審査を求めなければならない。
- 医療費の支給に要する費用は都道府県の支弁とし、国は、その2分の1を負担。

### (3) 難病の医療に関する調査及び研究の推進

- 国は、難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進。

### (4) 療養生活環境整備事業の実施

- 都道府県は、難病相談支援センターの設置や訪問看護の拡充実施等、療養生活環境整備事業を実施できる。

## 施行期日

平成27年1月1日

※児童福祉法の一部を改正する法律（小児慢性特定疾病の患児に対する医療費助成の法定化）と同日

# 難病基本方針におけるデータベースに関する記述

○「難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針（平成27年厚生労働省告示第375号）」

## 第2 難病の患者に対する医療費助成制度に関する事項

### (2) 今後の取組の方向性について

イ 法に基づく医療費助成制度の目的が、難病の患者に対する経済的支援を行うとともに、難病に関する調査及び研究の推進に資することであることに鑑み、国は、指定難病患者データの収集を行うため、医療費助成の対象とならない指定難病の患者を含む指定難病患者データに係るデータベース（以下「指定難病患者データベース」という。以下同じ。）を構築する。指定難病患者データベースの構築及び運用に当たっては、国及び都道府県は、個人情報保護等に万全を期す（以下略）

## 第5 難病に関する調査及び研究に関する事項

### (2) 今後の取組の方向性について

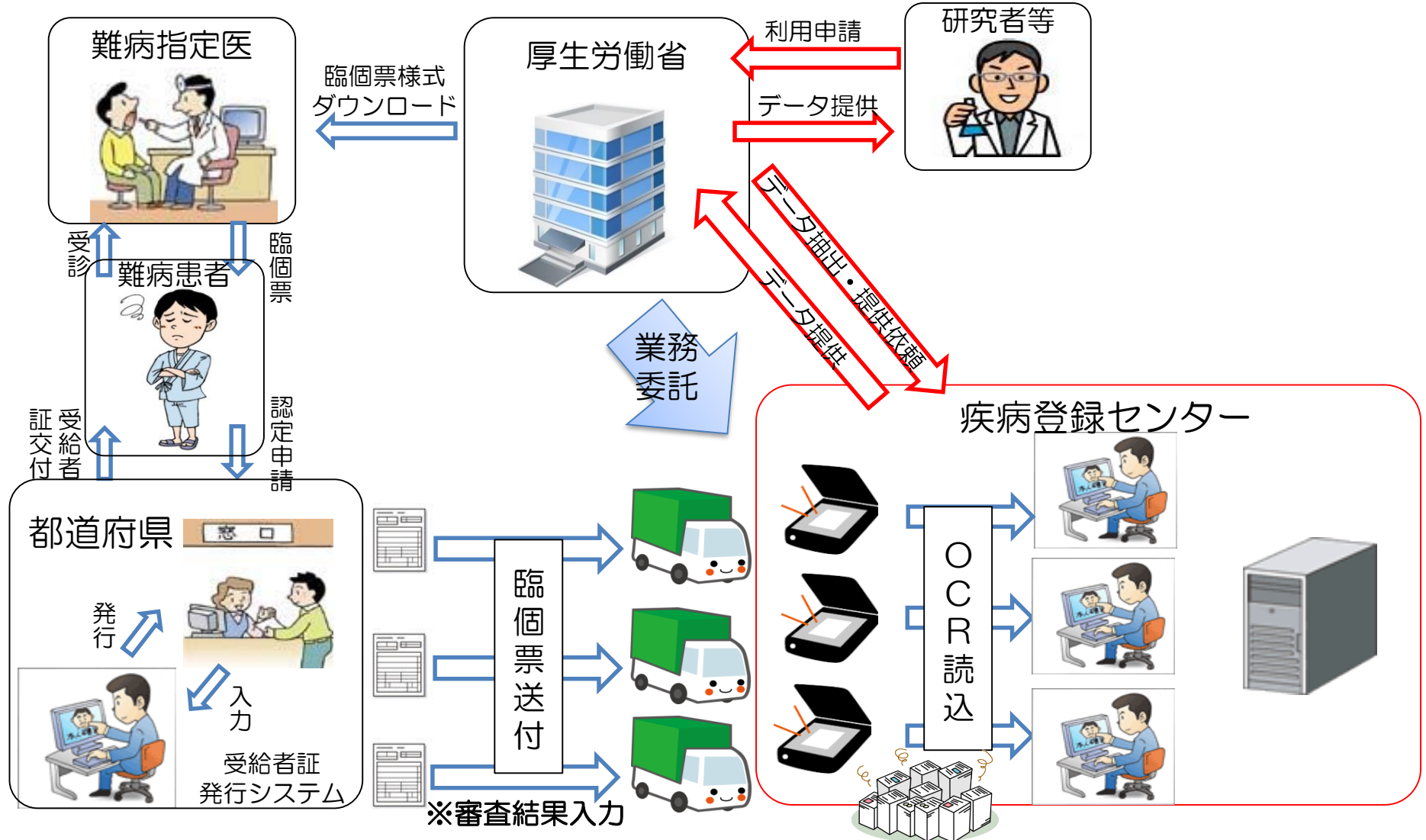
ウ 国は、指定難病患者データベースを構築し、医薬品（医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和35年法律第145号）第2条第1項に規定する医薬品をいう。以下同じ。）、医療機器（同条第4項に規定する医療機器をいう。以下同じ。）及び再生医療等製品（同条第9項に規定する再生医療等製品をいう。以下同じ。）の開発を含めた難病の研究に有効活用できる体制に整備する。指定難病患者データベースの構築に当たっては、小児慢性特定疾病のデータベースや欧米等の希少疾病データベース等、他のデータベースとの連携について検討する。

## 第6 難病の患者に対する医療のための医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発の推進に関する事項

ウ 研究者及び製薬企業等は、指定難病患者データベースに集められた指定難病患者データ等を活用しつつ、医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発、副作用等の安全性情報収集に積極的に取り組む。

# 指定難病患者データベースの概要

難病法に基づく基本的な方針により、国は、1年に1回、医療費助成の申請の際に提出される臨床調査個人票を用いて、指定難病患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等を収集しデータベースを構築している。



# 指定難病患者データベースに登録される項目

指定難病データベースには、指定医が作成する臨床調査個人票に記載されている情報が登録される。臨床調査個人票に記載される主な情報は、以下の6つ。

## 1. 基本情報

- ・告示病名、告示番号
- ・姓名
- ・住所
- ・生年月日
- ・性別
- ・家族歴
- ・発症年月
- ・社会保障(介護認定)
- ・生活状況
  - /移動の程度
  - /身の回りの管理
  - /ふだんの活動
  - /痛み・不快感
  - /不安・ふさぎ込み

## 2. 医療費支給 審査項目

### ① 診断基準

- ・病型分類
- ・臨床所見
- ・検査所見
- ・遺伝学的検査
- ・鑑別診断



診断のカテゴリー  
(判定基準)

### ② 重症度分類

- ・軽症/中等症/重症
- ・疾患特異的  
重症度分類

特記事項  
(自由記載欄)

## 3. 研究班の 調査項目

- ・臨床所見
- ・検査所見
- ・発症と経過
- ・治療履歴  
(薬物療法、  
外科的治療)

## 4. 人工呼吸器装 着の有無

## 5. 医療機関情報

- ・指定医番号
- ・医療機関電話番号
- ・記載年月日

## 6. 行政欄

- ・受給者番号
- ・認定/不認定

# 指定難病患者データベースの研究利用にかかる同意書

臨床調査個人票の研究利用に当たっては、自治体が申請者から同意を取ることとしているが、同意書のひな形については以下の通りとなっている。

(裏面)

<同意について>  
 厚生労働省では、難病の研究を推進するため、本申請書に添付された診断書(臨床調査個人票)をデータベースに登録し、厚生労働省の研究事業等の基礎資料として使用することとしています。  
 また、臨床調査個人票の使用に当たっては、個人情報の保護に十分配慮し、研究以外の目的には一切使用されることはありません。  
 なお、この同意は、添付された臨床調査個人票を疾病研究の基礎資料として活用することに対する同意であり、臨床調査研究分野の研究班で行われる臨床研究等の実施に関して協力を求める場合は、改めて、それぞれの研究者から主治医を介して説明が行われ、同意を得ることとされています。

厚生労働省では、難病の研究を促進するため、本申請書に添付した診断書(臨床調査個人票)をデータベースに登録し、**厚生労働省の研究事業等の基礎資料として使用する**こととしています。

また、臨床調査個人票の使用に当たっては、個人情報の保護に十分配慮し、研究以外の目的には一切使用されることはありません。

なお、この同意は、**添付された臨床調査個人票を疾病研究の基礎資料として活用することに対する同意であり**、臨床調査研究班で行われる臨床研究調査等の実施に関して協力を求める場合は、改めてそれぞれの研究者から指定医を介して説明が行われ、同意を得ることとされています。

裏面

申請様式第1号 新規・更新・変更申請共用

特定医療費(指定難病)支給認定申請書(新規・更新・変更)			
フリガナ	生年月日		
氏名	性別	男・女	年 月 日
個人番号	〒 月 日		
フリガナ	フリガナ		
住所	電話		
加入医療保険	被保険者氏名	保険者との続柄	
	保険種別	被保険者証の記号・番号	
	被保険者証発行機関名		
	所在地		
フリガナ	申請者との続柄		
氏名	フリガナ		
個人番号	住所(※2)		
フリガナ	電話番号(※2)		
病名			
<input type="checkbox"/>	人工呼吸器等装置	<input type="checkbox"/>	高齢かつ長期(高齢難病治療継続者)
<input type="checkbox"/>	軽症高齢該当		
今回申請する患者と同一世帯内にある認定医療費又は(従属)特定医療費の医療費請求を受けている者又は申請中の者		有(氏名) . 無	
受診を希望する(※3)医療機関(薬局、訪問看護事業者等を含む)	医療機関名		
	所在地		
受診者番号(※3)			
臨床調査個人票の研究利用についての同意	指定難病の研究を推進するため、提出した診断書(臨床調査個人票)を厚生労働省の研究において、個人情報保護の観点から疾病研究の基礎資料として活用されることに同意する(詳細については裏面に記載)。		
私は、上記のとおり、臨床調査個人票の研究利用について同意し、特定医療費の支給を申請します。			
申請者氏名	印(※4)		年月日
〇〇〇健康局健康課 課長			

※1 新規・更新・変更のいずれかに応ずる。  
 ※2 受診者本人と異なる場合は記入。  
 ※3 申請者は指定難病の患者本人。  
 ※4 申請者氏名については、署名捺印又は自動による署名のいずれかとする。

## 2. 小児慢性特定疾病児童等データベースについて



# 児童福祉法の一部を改正する法律の概要

## 法案提出の趣旨

持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律に基づく措置として、小児慢性特定疾病の患者に対する医療費助成に関して、その実施に要する経費に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な制度を確立するほか、基本方針の策定、慢性疾病児童の自立支援事業の実施、調査及び研究の推進等の措置を講ずる。

## 法律の概要

### (1) 基本方針の策定

- ・良質かつ適切な小児慢性特定疾病医療支援の実施その他の疾病児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針を定める。

### (2) 小児慢性特定疾病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

- ・都道府県・政令指定都市・中核市は、小児慢性特定疾病にかかっている児童等であって、当該疾病の程度が一定程度以上であるものの保護者に対し、申請に基づき、医療に要する費用（小児慢性特定疾病医療費）を支給。  
（現行の小児慢性特定疾病医療費助成は児童福祉法に基づく法律補助であるものの裁量的経費。今回、義務的経費化。）
- ・医療費助成に要する費用は都道府県等の支弁とし、国はその2分の1を負担。
- ・その他、適正な医療費助成及び医療の質を担保する観点から指定医療機関（都道府県等が指定）制度等に関する規定を整備。  
➢支給認定の申請に添付する診断書は、指定医が作成。                      ➢都道府県等は、支給認定をしないときは、小児慢性特定疾病審査会に審査を求める。

### (3) 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の実施

- ・都道府県等は、相談支援など小児慢性特定疾病児童に対する自立の支援のための事業（※）を実施。  
（※）必須事業：小児慢性特定疾病児童等、その保護者その他の関係者に対する相談支援、必要な情報提供、助言等  
任意事業：①レスパイト（医療機関等における小児慢性特定疾病児童等の一時預かり）、②相互交流支援、③就労支援、④家族支援（家族の休養確保のための支援）等

### (4) 小児慢性特定疾病の治療方法等に関する研究の推進

- ・国は、小児慢性特定疾病の治療研究など、慢性疾病にかかっている児童等の健全な育成に資する調査及び研究を推進。

## 施行期日

平成27年1月1日

※「難病の患者に対する医療等に関する法律」と同日施行

# 小児慢性特定疾病基本方針におけるデータベースに関する記述

○「小児慢性特定疾病その他の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する児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針(平成27年厚生労働省告示第431号)」

## 第二小児慢性特定疾病医療費の支給に関する事項

二小児慢性特定疾病医療費の支給の目的が、小児慢性特定疾病児童等の健全な育成の観点から、患児の家庭に対する経済的支援を行うとともに、小児慢性特定疾病に関する調査及び研究の推進に資することであることに鑑み、国は、小児慢性特定疾病医療費の支給の申請に係る小児慢性特定疾病児童等についての臨床データを収集し、管理及び活用を行うため、小児慢性特定疾病児童等に係る医学的データベース(以下「小児慢性特定疾病児童等データベース」という。)を構築する。小児慢性特定疾病児童等データベースの構築及び運用に当たっては、国及び都道府県等は、個人情報保護等に万全を期す。(以下略)

## ・第六疾病児童等の健全な育成に資する調査及び研究に関する事項

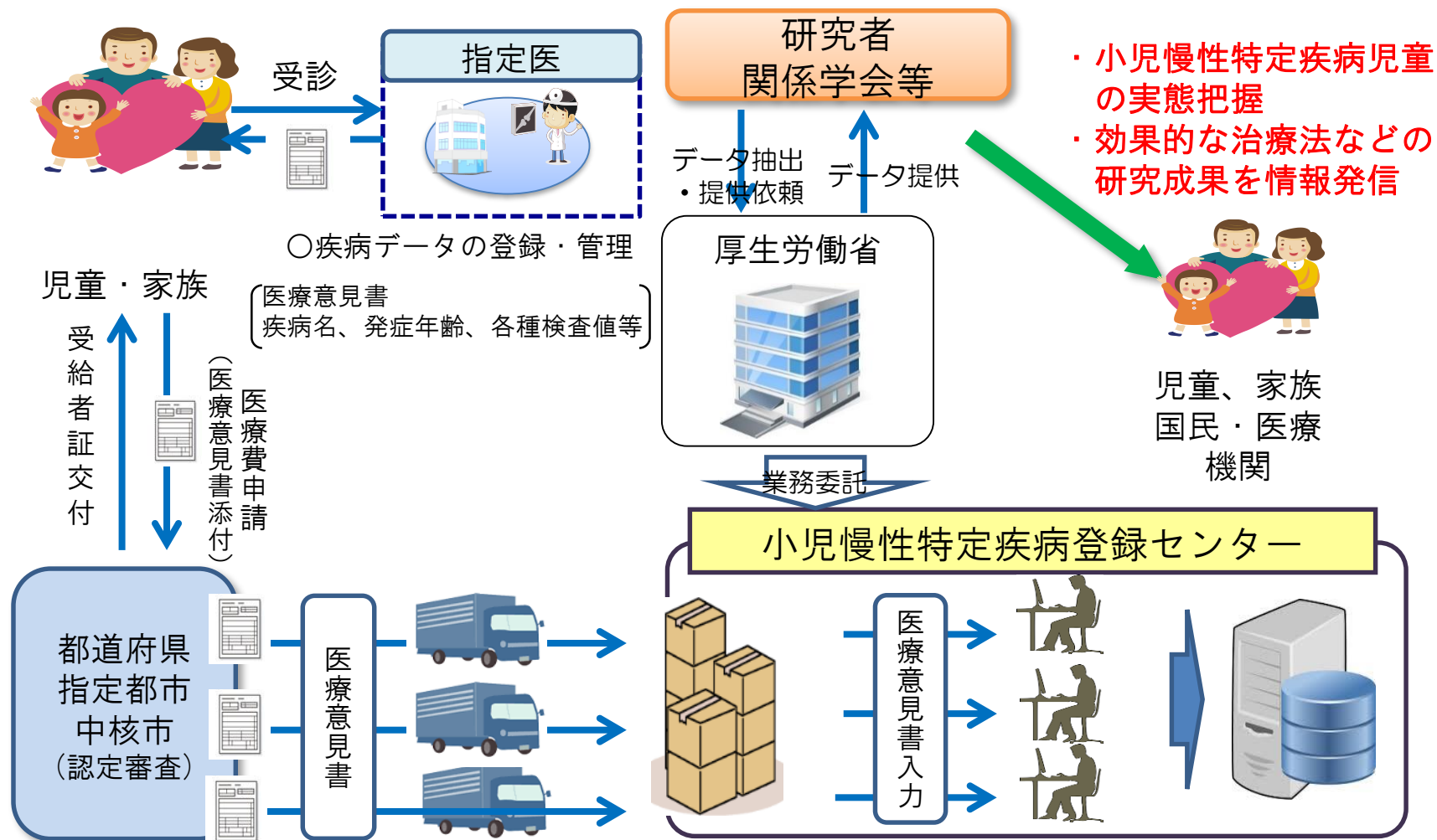
二国は、小児慢性特定疾病に関する研究の推進に資するよう、指定難病患者データベース(難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針第二(2)イに規定する指定難病データベースをいう。)の構築と連携しながら、小児慢性特定疾病児童等データベースを構築する。

三国は、小児慢性特定疾病児童等データベースを構築し、小児慢性特定疾病に関する調査及び研究に有効活用できる体制に整備する。

四国及び都道府県等は、小児慢性特定疾病に関する研究への活用のため、小児慢性特定疾病児童等のデータを研究機関に提供するに当たっては、個人情報の保護に十分配慮するよう努める。

# 小児慢性特定疾病児童等データベースの概要

児童福祉法に基づく基本的な方針により、国は、1年に1回、医療費助成の申請の際に提出される医療意見書を用いて、小児慢性特定疾病児童等についての臨床データを収集し、データベースを構築している。



# 小児慢性特定疾病児童等データベースに登録される項目

小児慢性特定疾病児童等データベースには、指定医が作成する医療意見書に記載されている情報が登録される。医療意見書に記載される主な情報は、以下の8つ。

## 1. 基本情報

- ・告示病名、告示番号
- ・姓名
- ・出生都道府県
- ・生年月日
- ・年齢
- ・性別
- ・出生体重／出生週数
- ・現在の身長／体重
- ・母の生年月日
- ・発症年月
- ・初診日
- ・大／細分類病名
- ・就学、就労(※)
- ・現状評価(※)
  - 人工呼吸器装着(※)
  - 該当/非該当(※)
- ・治療見込み期間(※)
  - 入院/通院(※)

## 2. 臨床所見

- 現在の症状
- ・病型
  - ・疾患の症状 等

## 3. 検査所見

- 診断の根拠となった主な検査等の結果

## 4. その他の所見

- その他の現在の所見等  
合併症(あり/なし)  
(自由記載)

## 5. 経過

- 現在までの主な治療など
- ・手術
  - ・薬物療法
  - ・補充療法
  - ・食事療法 等

## 6. 今後の療法方針

(自由記載)

## 8. 行政欄

- ・受給者番号
- ・認定/不認定

## 7. 医療機関情報

- ・指定医番号
- ・医師名
- ・医療機関名
- ・記載年月日

# 小児慢性特定疾患患者データベースの研究利用にかかる同意書

医療意見書の研究利用に当たっては、自治体が申請者から同意を取ることとしているが、同意書のひな形については以下の通りとなっている。

私は、小児慢性特定疾患に係る医療費助成の申請に当たり、**提出した医療意見書データが小児慢性特定疾病等の治療研究等、慢性疾患にかかっている児童等の健全育成に資する調査及び研究を推進するための基礎資料として、研究に利用されることに同意します。**

## ＜研究利用についてのご説明＞

小児慢性特定疾患の患者に対する良質かつ適切な医療支援の実施を目指し、当該疾病の程度が一定以上である者の保護者に対し、申請に基づき、医療に要する費用(小児慢性特定疾患医療費)を支給しています。この制度の利用を申請していただく際に提出して頂く「医療意見書」は、この事業の対象となるか否かの審査に用いられると同時に、データベースとして本事業の利用者数の把握等を行い、研究を推進することとしております。

小児慢性特定疾患の児童等の健全育成に資する調査及び研究を推進するための基礎資料として、医療意見書のデータを研究へ利用させて頂きたく同意をお願いしております。本紙をお読み頂き、研究利用に同意頂けるようでしたら、上記にご署名頂き、医療意見書と共に申請先の都道府県、指定都市又は中核市(以下、「都道府県」という。)へ提出してください。

なお、同意については任意であり、同意されない場合についても医療費助成の可否に影響を及ぼすものではありません。

## 別紙様式第7号

小児慢性特定疾患に係る医療費助成申請における  
医療意見書の研究利用についての同意書

厚生労働大臣 殿

私は、小児慢性特定疾患に係る医療費助成の申請に当たり、提出した医療意見書データが小児慢性特定疾病等の治療研究等、慢性疾患にかかっている児童等の健全育成に資する調査及び研究を推進するための基礎資料として、研究に利用されることに同意します。

平成 年 月 日

住 所  
患者氏名  
申請者署名

## ＜研究利用についてのご説明＞

小児慢性特定疾患の患者に対する良質かつ適切な医療支援の実施を目指し、当該疾病の程度が一定以上である者の保護者に対し、申請に基づき、医療に要する費用(小児慢性特定疾患医療費)を支給しています。この制度の利用を申請していただく際に提出して頂く「医療意見書」は、この事業の対象となるか否かの審査に用いられると同時に、データベース化して本事業の利用者数の把握等を行い、研究を推進することとしております。

小児慢性特定疾患の児童等の健全育成に資する調査及び研究を推進するための基礎資料として、医療意見書のデータを研究へ利用させて頂きたく同意をお願いしております。本紙をお読み頂き、研究利用に同意頂けるようでしたら、上記にご署名頂き、医療意見書と共に申請先の都道府県、指定都市又は中核市(以下、「都道府県」という。)へ提出してください。

なお、同意については任意であり、同意されない場合についても医療費助成の可否に影響を及ぼすものではありません。

## ○個人情報保護について:

患者さんの氏名や住所といった個人情報は申請書を提出した都道府県等が管理し、研究には利用しません。研究では、受給者番号等によって患者さんの経過(どのような治療を受けて、どうなったか等)を把握することはありますが、患者さんを特定できないように匿名化しています。研究の成果は公表しますが、その際個人が特定されることはありません。

データベースは、個人情報保護に十分に配慮して構築しています。

## ○研究利用等についての問合せ先:

ポータルサイト「小児慢性特定疾患情報センター」(<http://shouman.jp>)に研究利用等についての情報を掲載しておりますのでご覧ください。ご不明な点は以下にお問合せください。

- ・申請した、都道府県等の連絡先 Tel
- ・独立行政法人国立成育医療研究センター小児慢性特定疾患情報センター  
Tel: 03-3416-0181 (代表)