

## 難病対策の改革に向けた取組について (素案)

## 第 1 難病対策の基本理念及び基本的事項

## 1. 難病対策の基本理念

- 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ことを難病対策の基本理念とする。

※ 原因不明で、治療方法が未確立であり、生活面で長期にわたり支障が生じる疾病のうち、がん、生活習慣病等別個の対策の体系がないもの

## 2. 国による基本方針の策定

- 難病対策に係る基本方針を定め、難病に係る医療や研究開発の推進を図るとともに、福祉や雇用などの他の施策との連携を図る。

## 第 2 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

## 1. 治療方法の開発に向けた難病研究の推進

- 疾患概念が確立されていない難病の疾患概念を確立し、診断基準の作成を行う研究や、難病の診断・治療の適正化のための診療ガイドラインの作成を推進する。

- 難病の病態解明を行い、新規治療薬・医療機器等の開発につなげるための研究をさらに推進し、医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬であって難病の治療等に有効なものの開発の促進に資する取組についても引き続き進めていく。

- 研究で得られた成果を還元することとし、広く国民が理解できるようにわかりやすく最新情報を提供する。

## 2. 難病患者データベースの構築

## (1) 難病患者のデータ登録

- 難病患者のデータ登録の目的は、症例が比較的少なく、全国規模で

研究を行わなければ対策が進まない難病について、一定の症例を確保し、患者の症状、治療方法、転帰などを把握することにより研究の推進に結びつけることとする。

- 難病患者データベースは対象疾患に罹患した患者全員が登録可能なシステムとし、難病指定医（仮称）は、患者の同意の下、必要なデータの登録を行い、当該データ登録を行った患者に対して、関連情報を付加した難病患者登録証明書（仮称）を発行する。

## （2）難病指定医（仮称）の役割

- 難病指定医（仮称）は、的確に診断することを主な役割とし、新・臨床調査個人票〔新規〕（仮称）を発行し、これを患者が新たに医療費助成を申請する際の添付書類とする。
- 患者が医療受給者証（仮称）の更新を申請する際に添付する新・臨床調査個人票〔更新〕（仮称）については、難病指定医（仮称）又は、難病指定医（仮称）と連携したかかりつけ医等が発行する。

## （3）難病患者情報の取扱い

- 患者情報の取扱いについては、個人情報の保護に十分に配慮し、必要な体制を整備する。

## 3. 医療提供体制の確保

### （1）医療提供体制の整備

- 都道府県は「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」を三次医療圏ごとに原則1か所以上、「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」を適切な数、「難病医療地域基幹病院（仮称）」を二次医療圏に1か所程度指定する。また、都道府県はかかりつけ医等を含むように、「指定難病医療機関（仮称）」を幅広く指定して、医療費助成の対象となる医療を行う体制を整備する。

### （2）難病患者に対する日常的な診療体制

- 難病治療を含む日常的な診療は、患者のアクセスも考慮し、かかりつけ医等が行う。

(3) 極めて希少な難病を診断するための医療提供体制

- 「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」は、多くの難病の診断が可能となるよう体制を整備し、「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」及び難病医療支援ネットワーク（仮称）と連携して、できる限り早期に確実な診断が可能となるよう努める。
- 国立高度専門医療研究センター、難病研究班、それぞれの分野の学会等が連携して難病医療支援ネットワーク（仮称）を形成し、全国規模で正しい診断ができる体制を整備する。

第3 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

1. 医療費助成の対象疾患及び対象患者について

(1) 医療費助成の対象疾患

- 医療費助成の対象とする疾患は年齢によらず、①患者数が人口の0.1%程度以下、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の4要素を満たしており、かつ、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立している疾患とする。疾患の選定にあたっては難病研究で得られた成果を参考にする。（別添参照）
- 現行の特定疾患治療研究事業の対象疾患（56疾患）のうち、上記の要件を満たさない疾患については、新たな医療費助成とは別の対応を検討する。

(2) 対象患者の認定基準

- 全ての対象疾患に対して重症度分類等を導入し、疾患ごとにそれぞれの疾患特性に応じた重症度分類等を設定する。
- 医療費助成の対象は、対象疾患に罹患している難病患者データベースの登録患者のうち、症状の程度が重症度分類等で一定程度以上である者（日常生活又は社会生活に支障がある者）とする。  
ただし、症状の程度は上記に該当しないが、高額な医療（例：月ごとの医療費の負担が24,600円を超える月が年間3月以上ある場合）を継続して必要とする者については、医療費助成の対象とする。

- 難病研究で確立された診断基準を踏まえ、医療費助成の対象疾患で用いる認定基準を設定する。また、診療ガイドラインは、医療費助成の対象となる医療の範囲についての目安とする。

(3) 対象疾患の選定等を行う第三者的な委員会

- 対象疾患の選定や見直し、対象患者の認定基準の設定や見直し等を行うに当たって、国は厚生科学審議会の意見を聞くこととする。
- 厚生科学審議会に新たに第三者的な委員会として、対象疾患等検討委員会（仮称）を設置することとし、難病対策委員会での対象疾患の選定等に係る考え方に基づき、審議を行うこととする。当該委員会は難病に係る医療に見識を有する者で構成し、原則公開とする。
- 対象疾患の選定等に当たっては、必要に応じて、患者団体の代表者等からのヒアリングを行う。

(4) 都道府県における対象患者の認定

- 都道府県が難病指定医（仮称）を指定し、難病指定医（仮称）が発行する新・臨床調査個人票〔新規〕（仮称）に基づき、都道府県が設置する難病認定審査会（仮称）において医療費助成の対象患者を審査する。
- なお、難病指定医（仮称）については、難病医療に関し専門性を有する医師（専門学会に所属し専門医を取得している医師、または専門学会、日本医師会（地域医師会）、新・難病医療拠点病院（仮称）等で実施する一定の基準を満たした研修を受講した医師等）であることを指定の要件とし、難病認定審査会（仮称）については、難病に係る医療に見識を有する者で構成することとする。

2. 患者負担の在り方について

- 難病患者への新たな医療費助成の患者負担については、難病の特性をふまえて、負担割合を3割から2割に軽減し（※）、所得に応じて負担限度額を設定することとし、別添のとおりとする。  
ただし、新たな制度を施行する時点で特定疾患治療研究事業の医療費助成の対象であった者については、これまでの給付水準を考慮

した負担限度額を別途設定するなど概ね3年間の経過措置を講じる。  
※ 70歳以上の者のうち、医療保険で1割又は2割の負担割合が適用される者については、当該者に適用される医療保険の負担割合と同一とする。

- 所得については、医療保険と同様に世帯単位で把握し、所得の階層区分の適用は、市町村民税の課税状況をもとに行う。
- 同一世帯内に複数の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。
- 他の公費負担医療制度と同様、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担については、患者負担とするとともに、薬局での保険調剤に係る自己負担については、負担限度額に含める。
- 難病に係る医療については、医療保険での対応が基本であるが、地域によっては介護保険の医療系サービスで対応されている事情があることを踏まえ、地域の実情に応じて、都道府県が当該患者に対し、介護保険における医療系サービスについて必要と認める場合には医療費助成の対象とすることを可能とする。

#### 第4 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

##### 1. 難病に関する普及啓発

- 難病情報センターにおいて、難病患者とその家族、医療従事者、難病患者と関わる者や広く国民一般にとって有用な情報を充実させる。

##### 2. 難病患者の社会参加のための支援

###### (1) 難病相談・支援センターの機能強化

- 地域において、難病患者等の療養上及び日常生活上での不安の解消を図るなど、きめ細やかな相談や支援を行うため、難病相談・支援センターにおける取組の充実・強化を図る。

###### (2) 症状の程度等に応じた取組の推進

- 症状の程度等に応じた、在宅療養、福祉サービス、ピアサポート、

就労支援などの取組を推進する。また、地域において、難病患者への保健医療サービス等を行う者の育成、在宅での療養が必要な難病患者を介護する家族等の負担軽減に係る支援等を行う。

### 3. 福祉サービスの充実（障害福祉サービス等の対象疾患の拡大）

- 平成25年度から、障害者総合支援法に定める障害児・者の対象に難病等患者が加わり、その対象疾患として、当面の措置として、130疾患（難病患者等居宅生活支援事業の対象疾患とされていたものと同じ範囲）が定められたところであるが、その対象疾患の範囲について、医療費助成の対象疾患の範囲等に係る検討を踏まえ、見直しを実施する。

### 4. 就労支援の充実

- ハローワークに配置された「難病患者就職サポーター」を活用してハローワークと難病相談・支援センターとの連携の強化を図るとともに、「発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金」等の施策により、難病患者への就労支援の充実を図る。

### 5. 難病対策地域協議会（仮称）

- 地域に保健所を中心とした難病対策地域協議会（仮称）を設置するなどして、相談、福祉、就労、医療など、地域における難病患者への適切な支援を図るとともに、難病患者の地域での活動を支援するため、専門性の高い保健師等（難病保健医療専門員（仮称））を育成する。

## 第5 その他

### （1） 新制度の施行時期

- 難病対策の改革に必要な法案については、平成26年通常国会への提出を目指し調整を進める。その施行に当たっては、十分な準備期間を置くことが必要と考えられることから、施行時期は法案が成立した後概ね1年後の時期が想定されるが、できるだけ早い時期からの施行が望まれていることから、すでに医療費助成の対象となっている疾患に加え、新たに医療費助成の対象となる疾患の一部につい

ては、平成 27 年 1 月を目途に施行することができるよう必要な調整を行う。

(2) 新制度の実施主体

- 医療費助成等の難病に関する施策（福祉や就労支援等を除く）を行う実施主体は都道府県とする。

ただし、より身近な地域で支援等を行うべきとの観点から、新たな制度において、大都市の特例を設け、政令指定都市等が実施主体となることについて検討する。

検討に当たっては、政令指定都市等の意見や事務体制等の現状を踏まえるとともに、新たな制度の実施状況や事務の移行などの準備等を勘案し、都道府県以外の自治体の実施主体となる場合には、必要な準備期間を設ける。

# 医療費助成の対象疾患

医療費助成の対象とする疾患は年齢によらず、①患者数が人口の0.1%程度以下、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の4要素を満たしており、かつ、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立している疾患とする。

※上記の考え方に沿うと、医療費助成の対象となる候補は赤枠内の約300疾患。

〔現在、研究班において研究途中の結果を基にした疾患数。医療費助成の対象疾患は、最終的には第三者的な委員会で決定される。疾患の分類方法によって、今後疾患数は変わり得る。〕

	患者数			
	1000人以下 (不明含む)	1000人を上回り 5万人以下	5万人を上回り 人口の0.1%程度以下	人口の0.1%程度を上回る
診断基準あり	約70疾患	約80疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準に準ずるものあり	約100疾患	約60疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準なし	約40疾患			

※ 医療費助成の対象疾患に関する考え方を踏まえると、対象外と考えられるもの

- 希少性、原因不明等の観点から  
生活習慣(喫煙、飲酒等)、薬剤、感染症、加齢現象等、誘因が明らかである疾患、悪性腫瘍
- 効果的な治療法未確立の観点から  
手術など一定程度の治療法が確立し効果的に施行することが可能な疾患
- 生活面への長期にわたる支障の観点から  
周産期疾患、急性疾患
- 疾患概念が大きいまたは病態名であるもの

平成24年度「今後の難病対策のあり方に関する研究」(分担研究「希少・難治性疾患の類型化に関する研究」)報告書を基に作成。

## 難病に係る新たな医療費助成の制度案

資料1  
別添

○自己負担の割合について、現行の3割から2割に引下げ。

○自己負担の限度額について

- ・高額療養費制度における高齢者の外来の限度額を参考にしつつ、階層区分を細分化。
- ・症状が変動し入退院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
- ・受診した複数の医療機関等の自己負担(※)をすべて合算した上で負担限度額を適用する。

※ 薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。

○同一世帯内に複数の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。

○入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担について、患者負担とする。

☆新たな医療費助成における自己負担限度額(月額)

(単位:円)

階層区分	年収の目安 (夫婦2人世帯)		自己負担限度額(患者負担割合:2割、外来+入院)	
			原則 (新規認定者)	経過措置(既認定者) 【概ね3年間】
I	生活保護		0	既認定者の取扱いについては、低所得者に配慮しつつ、別途検討。
II	市町村民税	~約80万	3,000	
III	非課税	約80万~約160万	6,000	
IV	約160万~約370万		12,000	
V	約370万~約570万		24,600	
VI	570万~		44,400	

○高額な医療で軽症を維持している場合

助成の対象は症状の程度が一定以上の者であるが、軽症者であっても、高額な医療(例:月ごとの医療費の負担が24,600円を超える月が年間3月以上ある場合)を継続して必要とする者については、医療費助成の対象とする。

## (参考)難病に係る新たな医療費助成の制度案(たたき台)

10月18日  
難病対策委員会資料(抜粋)

- 自己負担の割合について
  - ・ 現行の3割から2割に引き下げ。
- 自己負担の限度額について
  - ・ 高額療養費制度(医療保険)における高齢者の外来の限度額を参考とし、所得に応じて設定。
  - ・ 症状が変動し入退院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
  - ・ 受診した複数の医療機関等の自己負担(※)をすべて合算した上で自己負担限度額を適用する。  
※ なお、薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。
- 助成の対象は、症状の程度が一定以上の者。なお、症状の程度が左記に該当しない軽症の場合であっても、高額な医療を要する者を対象に含める。
- 既認定者の取扱いは、別途検討。

### ☆新たな医療費助成における自己負担限度額(月額)

(単位:円)

階層区分	年収の目安 (夫婦2人世帯)	自己負担限度額 (患者負担割合:2割、外来+入院)	
		原則(新規認定者)	経過措置(既認定者)
I	生活保護	0	0
II	市町村民税非課税	8,000	既認定者の取扱いについては、低所得者に配慮しつつ、別途検討  【経過措置】 概ね3年間
III	~約370万	12,000	
IV	約370万~	44,400	

※ 医療保険における高額療養費制度の見直しに関する検討状況を踏まえ、変更の可能性あり。