

# 難病・小慢データベースの現状と 改正難病法・改正児童福祉法について

# 難病・小慢データベースの現状



平成31年  
4月4日

平成31年度 第1回  
厚生科学審議会 疾病対策部会

資料2  
(一部  
改変)

## <概要>

### (指定難病患者データベース)

- 平成27年に施行された「難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号）」に基づく、「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）」において、国は、指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等を適切に収集し、指定難病患者データに係るデータベースを構築することとしている。

### (小児慢性特定疾病児童等データベース)

- 平成27年に改正された「児童福祉法（昭和22年法律第164号）」に基づく「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）」において、国は、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、小児慢性特定疾病児童等に係る医学的データベースを構築することとしている。

## <収集根拠>

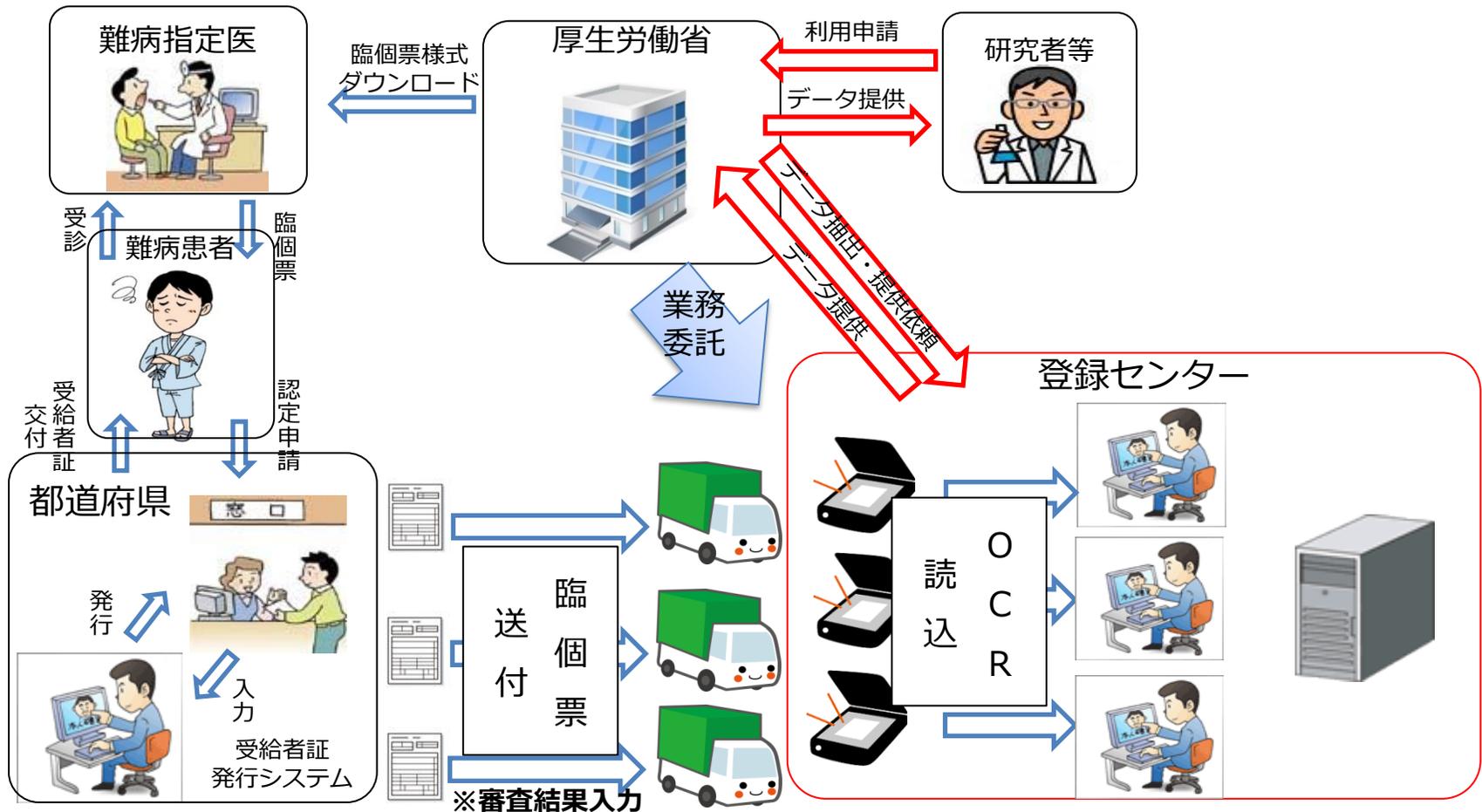
- 患者本人等の同意に基づき収集、利用。

## <第三者提供>

第60回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・第35回社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会(合同開催)において、「指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン」をとりまとめ、2019年度から提供。

# 指定難病患者データベースの現状

- 指定難病患者データベースは、医療費助成の申請時に提出された臨床調査個人票（以下「臨個票」という。）に記載されている臨床情報を基に構築されている。
- 登録までの流れは、①患者からの同意取得、②自治体から登録センターへの送付、③登録センターにおいてOCRによる読み込み・確認、④登録センターによる登録、となっている。



# 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、氏名・生年月日といった基礎的な情報のほか、医療費助成の支給認定の審査に必要な診断基準及び症状の程度に関する情報、研究に用いられる臨床所見や検査所見等の情報が登録されている。

## 1. 基本情報

- ・ 告示病名、告示番号
  - ・ 姓名
  - ・ 住所
  - ・ 生年月日
  - ・ 性別
  - ・ 被保険者番号等（令和6年4月～）
  - ・ 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
- 等

## 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

## 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)

特記事項  
(自由記載欄)

## 4. 人工呼吸器 装着の有無

## 5. 医療機関情報

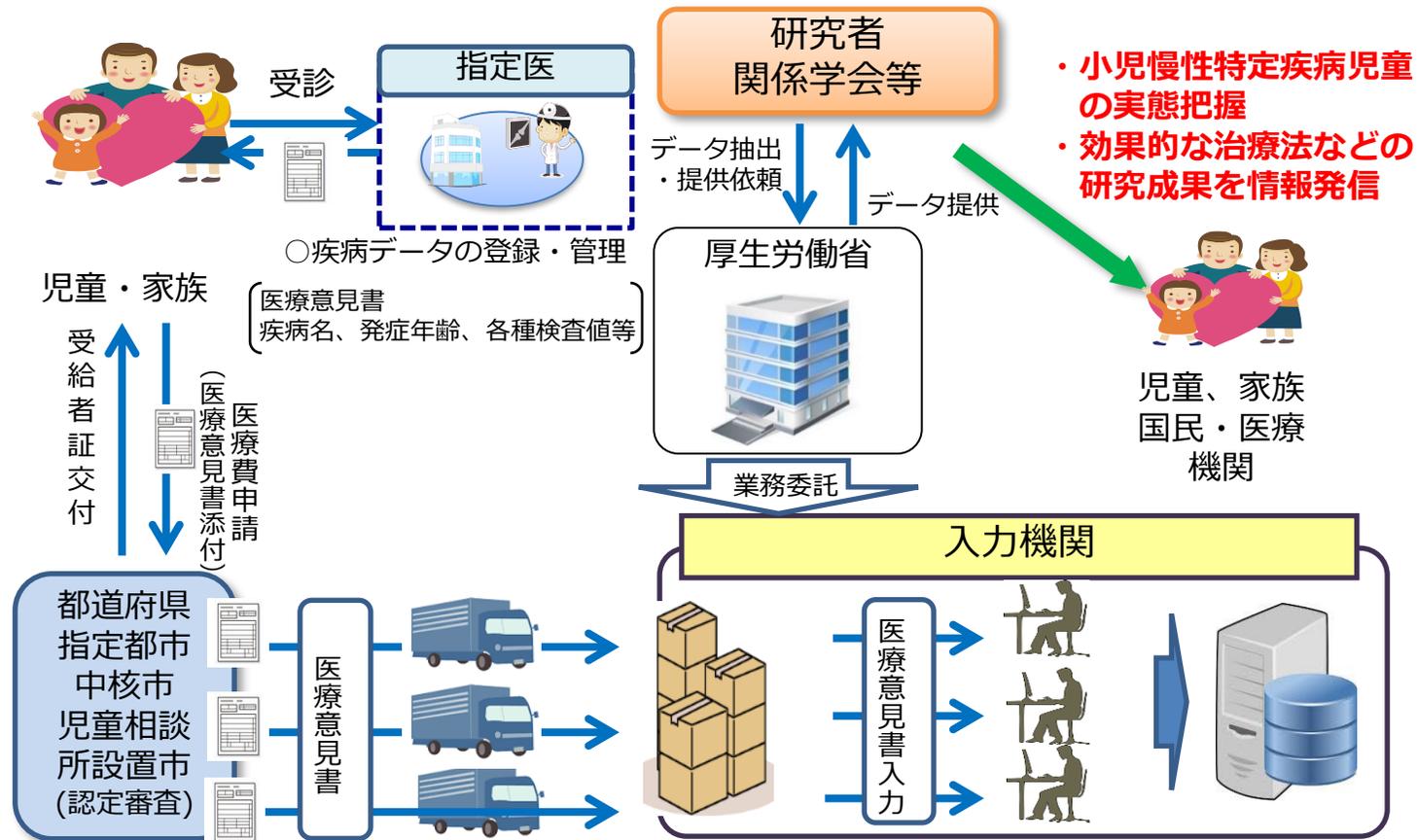
- ・ 指定医番号
  - ・ 医師名
  - ・ 医療機関名
  - ・ 医療機関電話番号
  - ・ 記載年月日
- 等

## 6. 行政欄

- ・ 受給者番号
  - ・ 認定/不認定
- 等

# 小児慢性疾病児童等データベースの現状

- 小児慢性疾病児童等データベースは、医療費助成の申請時に提出された医療意見書に記載されている臨床情報を基に構築されている。
- 登録までの流れは、①患者からの同意取得、②自治体から登録センターへの送付、③登録センターによる確認、④登録センターによる登録、となっている。



# 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、氏名・生年月日といった基本的な情報のほか、臨床所見、検査所見、経過、今後の治療方針等の情報が登録されている。

## 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
- ・ 被保険者番号等 (令和5年10月～)
- ・ 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

## 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

等

## 7. 医療機関情報

- ・ 指定医番号
- ・ 医師名
- ・ 医療機関名
- ・ 医療機関電話番号
- ・ 記載年月日

等

(※) 疾患により医療意見書内の記載箇所が異なる

# データ登録に関する同意について

- データ登録に関する同意を取得するに当たっては、以下4つの段階が存在する。
  - ① 患者に対し、データ登録に関する説明を行う
  - ② 患者が、同意書に記入する
  - ③ 患者から、同意書を受理する
  - ④ 同意書を保管する
- そのため、同意の取得について考えるに当たっては、「説明」「同意書の実受」「同意書の保管」の3つのプロセスについて考える必要がある。
- 現在は、「説明」「同意書の実受」「同意書の保管」のすべてを自治体が行っている。

## ①登録の説明



※現行では、自治体が、医療費助成の申請書を交付する際に実施している。

## ②同意書の記入

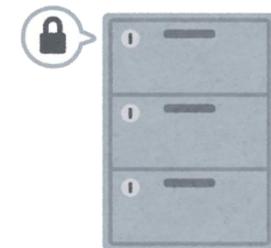


## ③同意書の実受



※現行では、自治体が、医療費助成の申請書を受理する際に合わせて受理している。

## ④同意書の保管



※現行では、自治体において保管されている。

# 臨床調査個人票の研究利用に関する説明資料

令和3年  
6月30日

第68回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・第47回社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会

参考資料

## <臨床調査個人票の研究利用に関するご説明>

指定難病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等に対し、申請に基づき、医療に要する費用を支給しています。この制度の申請時に提出していただく「臨床調査個人票」は、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に基づき、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、同意をいただいた方の「臨床調査個人票」の記載内容をデータベースに登録し、指定難病（小児慢性特定疾病）に関する研究の推進及び政策の立案のための基礎資料としております。

本紙をお読みいただき、データベースに患者さんの「臨床調査個人票」の記載内容を登録すること並びに登録情報を指定難病に関する研究及び政策の立案のための基礎資料として利用することに同意いただける場合は、申請書に署名をお願いします。

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：

臨床調査個人票を研究に利用するに当たっては、審査会において審査の上、以下の提供先に対して、提供することとしておりますが、患者さんを特定できないようするため、患者さんの氏名や住所等の情報は提供されません。臨床調査研究分野の研究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、皆様の同意を得ることとしております。

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。

また、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。

### （提供先について）

- ・ 厚生労働省
- ・ 厚生労働省が補助を行う研究事業を実施する者
- ・ 文部科学省が補助を行う研究事業を実施する者
- ・ 都道府県、指定都市
- ・ 上記以外で、厚生労働省が主催する有識者で構成される審査会において、指定難病及び小児慢性特定疾病の研究の推進のために必要であり、提供することが適切であると判断された者

### ○同意の撤回等について：

この研究への参加について同意をいただいた後も、登録された情報を研究機関等へ提供することについて、同意を撤回することができます。同意撤回後は、データベースに登録されている患者さんのデータが、指定難病に関する研究及び政策の立案のため研究機関や政府機関に提供されることはありません。ただし、すでにデータを提供している場合や提供したデータを用いた研究の成果をすでに公開している場合には、それらの情報は削除できませんので、あらかじめご了承ください。

また、患者さんが同意を撤回した後、登録されているデータを用いることで患者さん本人が利益を得られることが見込まれるような医学的進歩があった場合に、データベースに登録されて

す。そのような場合に備え、患者さんが同意を撤回した後も、一度登録したデータはデータベースに保存され続けます。（なお、一度登録したデータをデータベースから削除することもできますが、その場合、上記のような医学的進歩があった際に、データを利用することができず、患者さんが利益を得ることが難しくなる可能性があります。その点をご理解いただいた上、一度登録したデータをデータベースから削除することを希望する場合は、厚生労働省ホームページにて詳細を確認し、必要な手続きをおこなってください。）。

[https://www.mhlw.go.jp/stf/nanbyou\\_kenkyu.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/nanbyou_kenkyu.html)

### ○データベースに登録される項目：

データベースに登録される項目は臨床調査個人票に記載された項目となります。臨床調査個人票については、以下の URL をご参照ください。患者さんを特定できないようするため、患者さんの氏名や住所といった個人情報は提供されません。

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000084783.html>

### ○その他：

研究では、受給者番号等によって過去のデータと紐付けを行い、患者さんの経過（どのような治療を受けて、その後の症状がどうなったか等）を把握することがあります。

# データベースの当面の利活用の具体的な対応

○ データベースの当面の利活用に係る具体的な対応については、有識者会議（※1）の議論を踏まえ、合同委員会（※2）において取りまとめられたガイドライン（※3）に基づき、提供を開始（令和元年5月から申請受付を開始）。

※1：指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関する有識者会議

※2：厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会

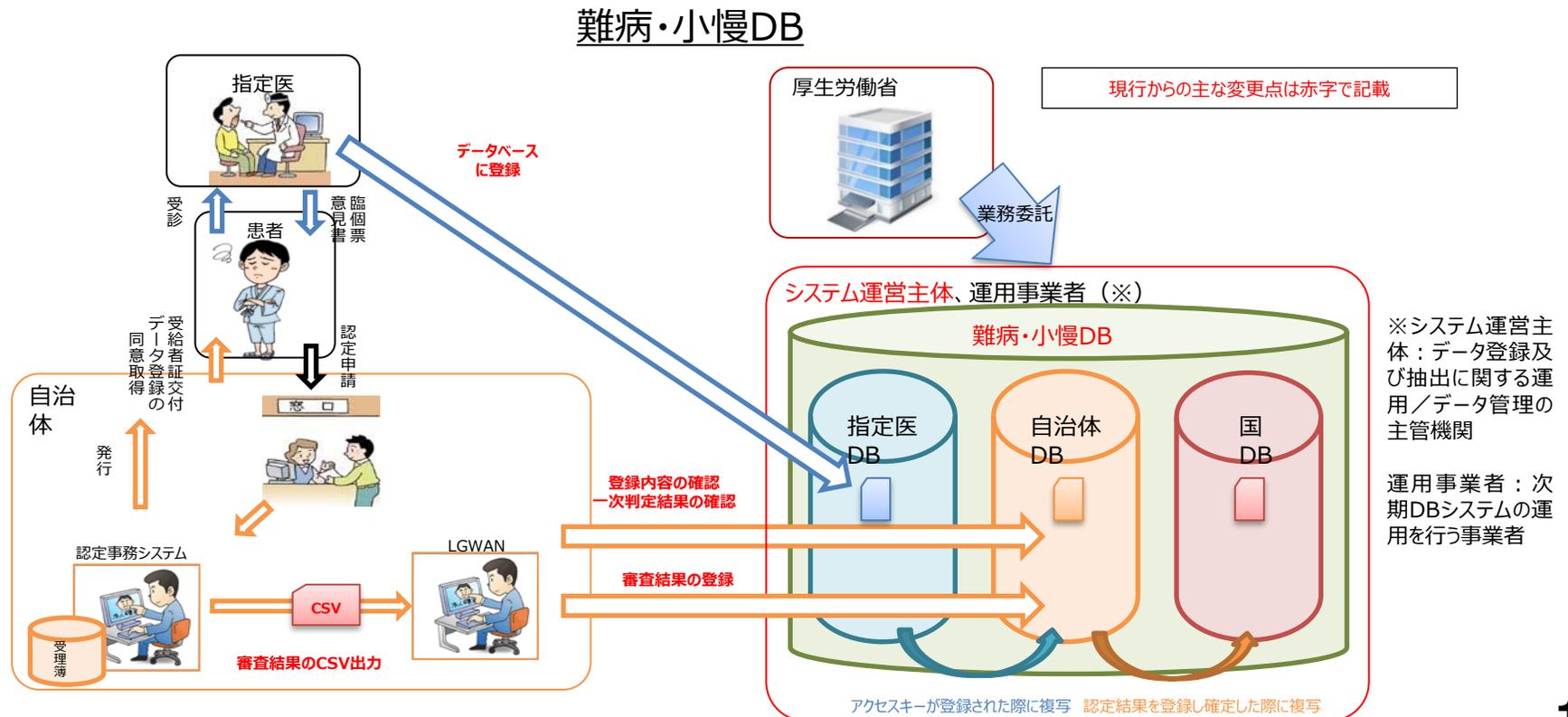
※3：指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン

利活用に当たって考慮すべき項目	基本的な方向性	ガイドラインに盛り込まれた具体的な対応
データの利用に関する同意	データの利活用の範囲は、患者から同意を得た範囲を原則とする。	<ul style="list-style-type: none"> <li>提供の同意が取れていない情報（氏名・住所等）は、削除した上で提供する。</li> <li>ただし、臨床研究等に関して患者に協力を求める場合は、再同意の取得に必要な「指定医が診断を行った医療機関」等の情報を提供することを認める。</li> </ul>
情報の提供先	原則として、厚生労働省又は厚生労働省が補助を行う研究事業を実施する研究機関に限定する。	<ul style="list-style-type: none"> <li>厚生労働省</li> <li>厚生労働省が補助を行う研究事業を実施する者</li> <li>文部科学省が補助を行う研究事業を実施する者</li> <li>都道府県、指定都市、中核市（※中核市は小児慢性特定疾病のみ）</li> <li>その他審査会において指定難病及び小児慢性特定疾病の研究の推進のために必要であり、提供することが適切であると判断された者</li> </ul>
提供する情報の範囲	匿名化を行った上で、必要最小限の提供とする。	<ul style="list-style-type: none"> <li>氏名・住所等個人が直接特定される情報を削除した上で提供する。</li> </ul>
利活用の目的	原則として、各疾病の疫学調査等の研究や学術目的としての利用に限定する。	<ul style="list-style-type: none"> <li>以下の場合に限り提供を認めることとする。</li> <li>難病等患者データを用いて研究を行う場合</li> <li>臨床研究等の実施に関して患者に協力を求める場合</li> </ul>
研究成果等の公表方法	個人が特定されないようにした上で、広く国民に周知する。	<ul style="list-style-type: none"> <li>以下に留意した上で広く周知することとする。</li> <li>患者等の数が原則として10未満になる集計単位が含めないこと。</li> <li>年齢区分は、原則として、5歳毎にグルーピングして集計。</li> <li>地域区分の集計単位は、都道府県、指定都市及び中核市まで。</li> </ul>
審査会の設置	有識者で構成される審査会を設置し、個人情報保護等の観点から、提供の可否を判断する。	<ul style="list-style-type: none"> <li>難病等患者データの提供の可否を判断する審査は、審査会が審査基準に従って実施する。</li> </ul>

# 現行DBから次期DBの全体像の変更イメージ概要（次期DB）

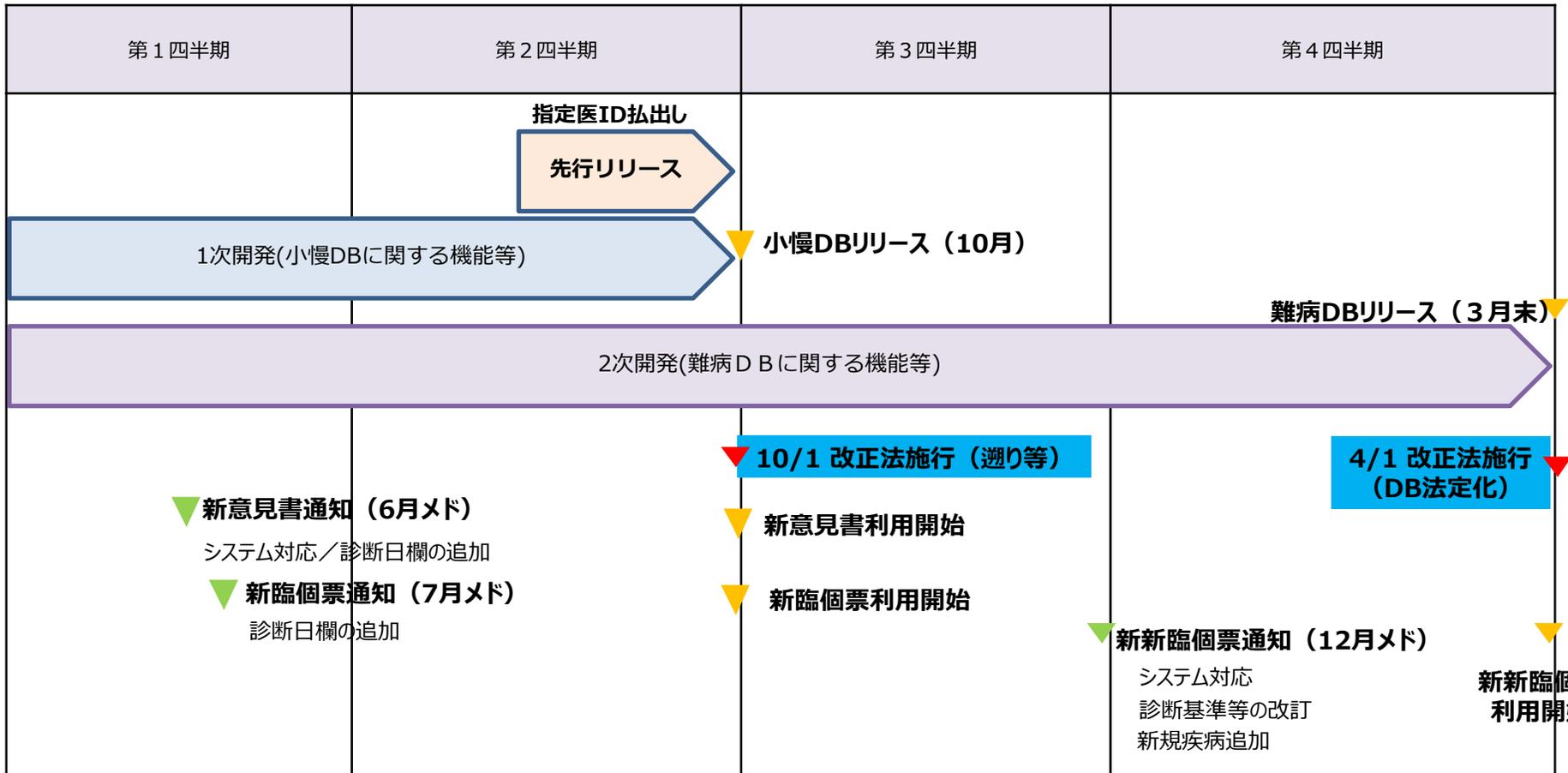
- 次期DBとして、難病DB及び小慢DBを1つのシステムに統合すると共に、システムの利用範囲を拡大する。次期DBにて追加される特徴は以下の通り。
  - ・指定医はDBを用いて臨個票・意見書を作成・印刷。
  - ・自治体職員は、指定医が登録した臨個票・意見書データを引継ぐ。一次判定(機械判定)の結果を確認(難病のみ)。認定審査結果をシステムに登録し、システム運営主体へ(郵送ではなく)臨個票・意見書データを連携する。
  - ・システム運営主体にて、当該データを受領しDBにデータ登録やデータ抽出業務等を行う。

## 次期DB



# 指定難病患者及び小児慢性特定疾病児童等データベースのシステムリリーススケジュール

- 開発フェーズを1次開発、2次開発に分けて改修を進めている。
- 1次開発は、主に小慢DBに関する機能であり、2023年10月頭のリリース
- 2次開発は、主に難病DBに関する機能であり、2024年3月末のリリースを予定
- 指定医のID発行にかかる先行リリースは、2023年8月より開始



# 現在の難病DB・小慢DBの第三者提供実績

## 指定難病患者データベース

- 平成29年度からデータベースの運用開始
- 登録データ数：約400万件（平成29年度～令和4年度末）
- 第三者提供件数：以下のとおり（いずれも延べ数、難病DBのみ）

	提供者数	対象疾病数	提供データ件数
令和2年度	13 件	34 疾病	28.4 万件
令和3年度	12 件	19 疾病	32.6 万件
令和4年度	3 件	13 疾病	40.6 万件
<b>合計</b>	<b>28 件</b>	<b>66 疾病</b>	<b>101.6 万件</b>

## 小児慢性特定疾病児童等データベース

- 平成29年度からデータベースの運用開始
  - 登録データ数：約50万件（平成29年度～令和4年度末）
  - 第三者提供件数：以下のとおり（いずれも延べ数、小慢DBのみ）
- ※ 提供疾病、件数にはホルモン治療用意見書を含む。

	提供者数	対象疾病数	提供データ件数
令和2年度	6 件	711 疾病	41.8 万件
令和3年度	4 件	257 疾病	6.4 万件
令和4年度	1 件	2 疾病	100 件
<b>合計</b>	<b>11 件</b>	<b>970 疾病</b>	<b>48.2 万件</b>

# 改正難病法・改正児童福祉法

ひと、暮らし、みらいのために



厚生労働省  
Ministry of Health, Labour and Welfare

# 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等の一部を改正する法律（令和4年法律第104号）の概要

## 改正の趣旨

障害者等の地域生活や就労の支援の強化等により、障害者等の希望する生活を実現するため、①障害者等の地域生活の支援体制の充実、②障害者の多様な就労ニーズに対する支援及び障害者雇用の質の向上の推進、③精神障害者の希望やニーズに応じた支援体制の整備、④難病患者及び小児慢性特定疾病児童等に対する適切な医療の充実及び療養生活支援の強化、⑤障害福祉サービス等、指定難病及び小児慢性特定疾病についてのデータベースに関する規定の整備等の措置を講ずる。

## 改正の概要

### 1. 障害者等の地域生活の支援体制の充実【障害者総合支援法、精神保健福祉法】

- ① 共同生活援助（グループホーム）の支援内容として、一人暮らし等を希望する者に対する支援や退居後の相談等が含まれることを、法律上明確化する。
- ② 障害者が安心して地域生活を送れるよう、地域の相談支援の中核的役割を担う基幹相談支援センター及び緊急時の対応や施設等からの地域移行の推進を担う地域生活支援拠点等の整備を市町村の努力義務とする。
- ③ 都道府県及び市町村が実施する精神保健に関する相談支援について、精神障害者のほか精神保健に課題を抱える者も対象にできるようにするとともに、これらの者の心身の状態に応じた適切な支援の包括的な確保を旨とすることを明確化する。

### 2. 障害者の多様な就労ニーズに対する支援及び障害者雇用の質の向上の推進【障害者総合支援法、障害者雇用促進法】

- ① 就労アセスメント（就労系サービスの利用意向がある障害者との協同による、就労ニーズの把握や能力・適性の評価及び就労開始後の配慮事項等の整理）の手法を活用した「就労選択支援」を創設するとともに、ハローワークはこの支援を受けた者に対して、そのアセスメント結果を参考に職業指導等を実施する。
- ② 雇用義務の対象外である週所定労働時間10時間以上20時間未満の重度身体障害者、重度知的障害者及び精神障害者に対し、就労機会の拡大のため、実雇用率において算定できるようにする。
- ③ 障害者の雇用者数で評価する障害者雇用調整金等における支給方法を見直し、企業が実施する職場定着等の取組に対する助成措置を強化する。

### 3. 精神障害者の希望やニーズに応じた支援体制の整備【精神保健福祉法】

- ① 家族等が同意・不同意の意思表示を行わない場合にも、市町村長の同意により医療保護入院を行うことを可能とする等、適切に医療を提供できるようにするほか、医療保護入院の入院期間を定め、入院中の医療保護入院者について、一定期間ごとに入院の要件の確認を行う。
- ② 市町村長同意による医療保護入院者を中心に、本人の希望のもと、入院者の体験や気持ちを丁寧に聴くとともに、必要な情報提供を行う「入院者訪問支援事業」を創設する。また、医療保護入院者等に対して行う告知の内容に、入院措置を採る理由を追加する。
- ③ 虐待防止のための取組を推進するため、精神科病院において、従事者等への研修、普及啓発等を行うこととする。また、従事者による虐待を発見した場合に都道府県等に通報する仕組みを整備する。

### 4. 難病患者及び小児慢性特定疾病児童等に対する適切な医療の充実及び療養生活支援の強化【難病法、児童福祉法】

- ① 難病患者及び小児慢性特定疾病児童等に対する医療費助成について、助成開始の時期を申請日から重症化したと診断された日に前倒しする。
- ② 各種療養生活支援の円滑な利用及びデータ登録の促進を図るため、「登録者証」の発行を行うほか、難病相談支援センターと福祉・就労に関する支援を行う者の連携を推進するなど、難病患者の療養生活支援や小児慢性特定疾病児童等自立支援事業を強化する。

### 5. 障害福祉サービス等、指定難病及び小児慢性特定疾病についてのデータベース（DB）に関する規定の整備【障害者総合支援法、児童福祉法、難病法】

障害DB、難病DB及び小慢DBについて、障害福祉サービス等や難病患者等の療養生活の質の向上に資するため、第三者提供の仕組み等の規定を整備する。

### 6. その他【障害者総合支援法、児童福祉法】

- ① 市町村障害福祉計画に整合した障害福祉サービス事業者の指定を行うため、都道府県知事が行う事業者指定の際に市町村長が意見を申し出る仕組みを創設する。
- ② 地方分権提案への対応として居住地特例対象施設に介護保険施設を追加する。

このほか、障害者総合支援法の平成30年改正の際に手当する必要があった同法附則第18条第2項の規定等について所要の規定の整備を行う。

## 施行期日

令和6年4月1日（ただし、2④及び5の一部は公布後3年以内の政令で定める日、3②の一部、5の一部及び6②は令和5年4月1日、4①及び②の一部は令和5年10月1日）

# 難病・小慢データベースの法定化 (令和6年4月1日施行)

令和5年  
7月10日

第70回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策  
委員会・第1回社会保障審議会小児慢性特定疾  
病対策部会小児慢性特定疾病対策委員会

資料1

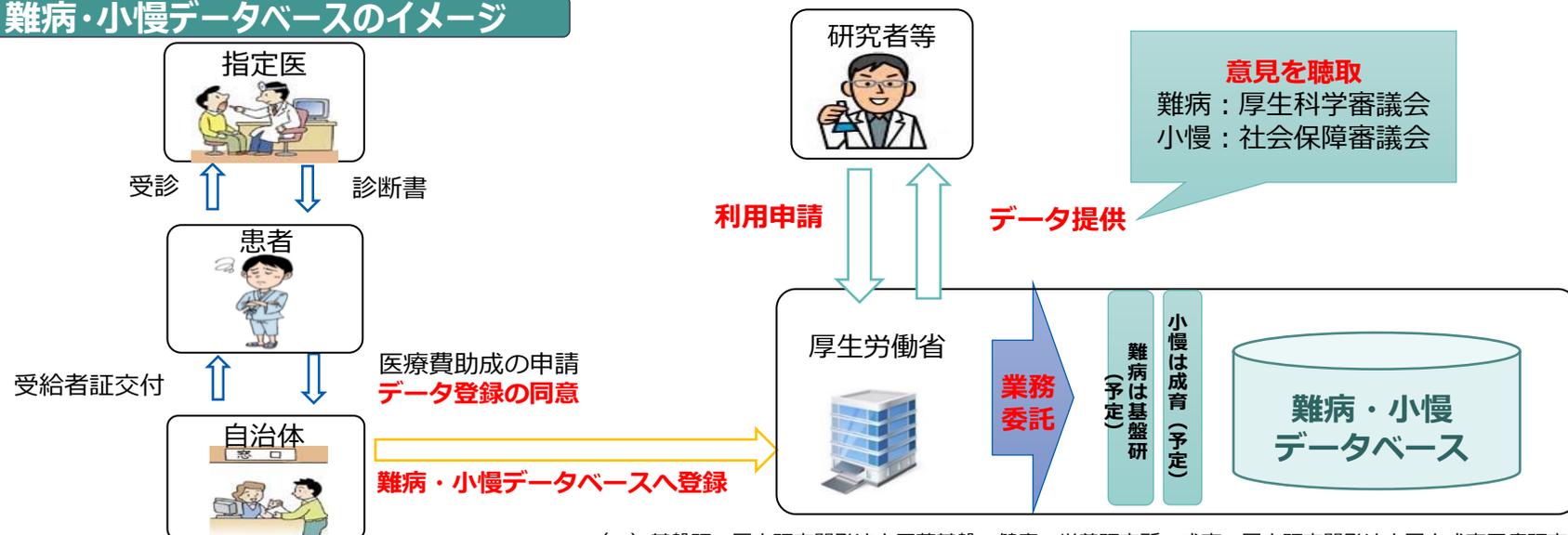
## 改正の概要

- 難病・小慢データベースの法的根拠が新設され、国による情報収集、患者等の同意を前提とした都道府県等の国への情報提供義務が規定された。
- また、安全管理措置、第三者提供ルール等の諸規定が新設され、他の公的データベースとの連結解析も可能とされた。
- 難病データベースについては、登録対象者を拡大し、軽症の指定難病患者もデータ登録が可能とされた。

## 今後の対応（案）

- 法定化により、新たに他の公的DBとの連結解析に対応する必要があるなど、新たにデータ提供に関するガイドラインを策定する必要があるため、データ提供に関する有識者会議を立ち上げてはどうか。
- 当該有識者会議においては、ガイドラインの他、研究成果の公表の在り方や、データの第三者提供に係る手数料の額、手数料を免除する対象者の範囲についても議論してはどうか。

## 難病・小慢データベースのイメージ



(※) 基盤研：国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、成育：国立研究開発法人国立成育医療研究センター

- 現行のガイドラインは、合同委員会でとりまとめた「指定難病患者データベースと小児慢性特定疾病児童等データベースの当面の利活用の在り方について」に基づき、「指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関する有識者会議」において、専門的な観点から検討が行われた。

## 指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン（平成31年2月）

### （主な内容）

- ガイドラインの目的
- 難病等患者データの提供に際しての基本原則
- 難病患者データの提供依頼申出手続
  - ・ 提供依頼申出者の範囲
- 提供依頼申出に対する審査
  - ・ 難病等患者データの提供先の範囲
  - ・ 審査基準
- 提供が決定された後の難病等患者データの手続
- 難病等患者データの提供後の利用制限
- 難病等患者データの利用後の措置等
- 提供依頼申し出者による研究成果等の公表
  - ・ 研究成果の公表に当たっての留意点
- 難病等患者データの不適切利用への対応
- 厚生労働省による実地監査

## 指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関する有識者会議

### ○ 目的

厚生労働省健康局長が参集を求める有識者により、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の利活用の運用に関し、専門的な観点から検討を行うことを目的として開催

### ○ 検討事項

- (1) データ提供の可否に係る審査基準
- (2) 審査会の運営方法
- (3) その他データベースの利活用の運用に関する専門的事項

### ○ 構成員（※所属役職等は当時のもの）

五十嵐 隆	国立成育医療研究センター 理事長
加藤 源太	京都大学医学部附属病院 診療報酬センター 副センター長
神里 彩子	東京大学 医科学研究所 先端医療研究センター 生命倫理研究分野 准教授
千葉 勉	関西電力病院 病院長
樋口 範雄	武蔵野大学 法学部 法律学科 特任教授
三谷 絹子	獨協医科大学 医学部 内科学（血液・腫瘍）教授
森 まどか	国立精神・神経医療研究センター病院 神経内科 診療部第二神経内科 医長
康永 秀生	東京大学大学院医学系研究科 公共健康医学専攻臨床疫学・経済学 教授
山本 隆一	一般財団法人 医療情報システム開発センター 理事長

# 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等の一部を改正する法律案の附帯決議（抜粋）

## 衆議院厚生労働委員会（令和4年11月18日）

- 二十六 難病の根治に向けた研究、治療法の確立に資するデータベースの構築を図るため、データ登録の促進に努めるとともに、オンライン化を始めとした事務手続の簡略化を図ること。また、取り扱うデータは遺伝情報等が含まれることから、登録データのセキュリティ対策には万全を期すとともに、利活用の範囲については慎重に検討すること。

## 参議院厚生労働委員会（令和4年12月8日）

- 二十九 難病の根治に向けた研究、治療法の確立に資するデータベースの構築を図るため、データ登録の促進に努めるとともに、オンライン化を始めとした事務手続の簡略化を図ること。また、取り扱うデータは遺伝情報等が含まれることから、登録データのセキュリティ対策には万全を期すとともに、利活用の範囲については慎重に検討すること。さらに、登録者証のマイナンバーとの連携に当たっては、疾病情報を基にした偏見や差別につながらないように十分に留意すること。

## 難病・小慢対策の見直しに関する意見書（ポイント）

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・社会保障審議会児童部会小児慢性  
特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会とりまとめ（令和3年7月）

### 基本的な考え方

難病法の基本理念にのっとり、難病の克服を目指し、地域社会で尊厳を持って他の人々と共生することを妨げられないことを旨として、総合的な施策を講じる。

### 研究・医療の推進（良質かつ適切な医療の充実）

#### ○ 円滑に医療費助成が受けられる仕組みの導入（項目1-1）

助成開始の時期を申請時点から重症化時点に前倒しする。

※ 都道府県等の事務負担等に与える影響や、患者等にとってもできる限り早期の申請・認定が望ましいこと、他制度とのバランスを踏まえ、前倒し期間に上限を設ける。  
具体的な上限は、申請日から1ヶ月前までが考えられるが、病状や指定医の状況によっては難しい場合があり得ることも踏まえ検討すべき。

#### ○ データベースの充実と利活用について（項目1-2）

個人情報保護に十分に配慮しつつ、治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、難病DB・小慢DBについて法律上の規定を整備する。

※ 提供する情報の内容はこれまでと同様。第三者提供の範囲は、民間事業者も含め、審査会で判断。

※ 想定される法律上の規定は、第三者提供のルール、安全管理措置、指導監督、罰則等。

#### ○ 医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入（項目1-3）

医療費助成の申請をしない患者についても、データを登録することができる仕組みを設ける。

※ 患者のデータ登録の流れ、登録項目は、医療費助成対象者と同様。登録の頻度も医療費助成対象者と同様にすることを基本に、患者の事務負担と研究の意義の  
バランスを踏まえて検討。データの研究利用に関する同意は医療費助成を行う地方自治体が取得。小児慢性特定疾病は、指定難病に当たる疾病など、軽症者の  
データ収集の必要性が高いと考えられる疾病から導入することが考えられる。

### 地域共生の推進（療養生活支援の強化）

#### ○ 地域における支援体制の強化（項目2-1）

- ・ 難病相談支援センターの連携先として、福祉や就労支援機関を法令に明記する。
- ・ 慢性疾患児童等地域支援協議会を法令上に位置付けるとともに、難病対策地域協議会との連携についても法令上明確にする。

#### ○ 小児慢性特定疾患児童等自立支援事業の強化（項目2-2）

- ・ 現状把握→課題分析→任意事業の企画・実施という流れを作るため、地域の実態把握を自治体の必須事業とする。
- ・ 任意事業の実施率向上を図るため、任意事業の努力義務化を積極的に検討する。

#### ○ 「登録者証」(仮称)の発行（項目2-3）

- ・ データを登録した患者に、「登録者証」(仮称)を発行することが適当と考えられる。
- ・ 「登録者証」(仮称)には、地域で利用できるサービスの情報を記載するほか、医師の診断書に代わるものとして取り扱うことができるよう、関係者に働きかける。

※ 「登録者証」(仮称)の交付目的は、「治療研究の推進」と「療養生活の環境整備」の2つ。

※ 交付目的、患者の利便性、関係者の事務負担等を踏まえ、地方自治体が発行することが考えられる。

# 難病DB・小慢DBの主な変更点

## 匿名データの第三者提供先・活用できる業務の範囲

現在	令和6年度以降
<p><b>&lt;提供対象者&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 原則、厚労省、地方公共団体、厚労省又は文科省が補助を行う研究事業の実施者のみであり、<u>製薬企業等の民間企業は提供不可</u></li> <li>➔ <u>過去に、製薬企業等に提供した実績はない</u></li> </ul> <p><b>&lt;活用可能な業務の範囲&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 厚労省又は文科省が補助を行う研究事業の実施者は、<u>難病等患者データを用いて研究を行う場合等に限定</u></li> <li>➔ <u>結果的に、患者疫学情報の把握にのみ活用（患者数、発病年齢、男女比、症状の分布、診療実態など）</u></li> </ul>	<p><b>&lt;提供対象者&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>製薬企業等の民間企業に対しても、提供可能</u></li> </ul> <p><b>&lt;活用可能な業務の範囲&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>難病・小慢の患者に対する医療・福祉の分野の研究開発に資する分析等に活用可能（特定の商品・役務の広告又は宣伝に利用するために行うものを除く。）</u></li> <li>➔ <u>例えば、創薬において、開発したい治療薬の対象患者の概要把握（治験の実行可能性等）、治験で使用するアウトカム指標の検討などに活用可能</u></li> </ul>

## 他のDBとの連結解析

現在	令和6年度以降
<ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>難病DB・小慢DBの連結・提供のみ可能</u></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ <u>他の公的DBとの連結・提供することも可能</u></li> </ul>

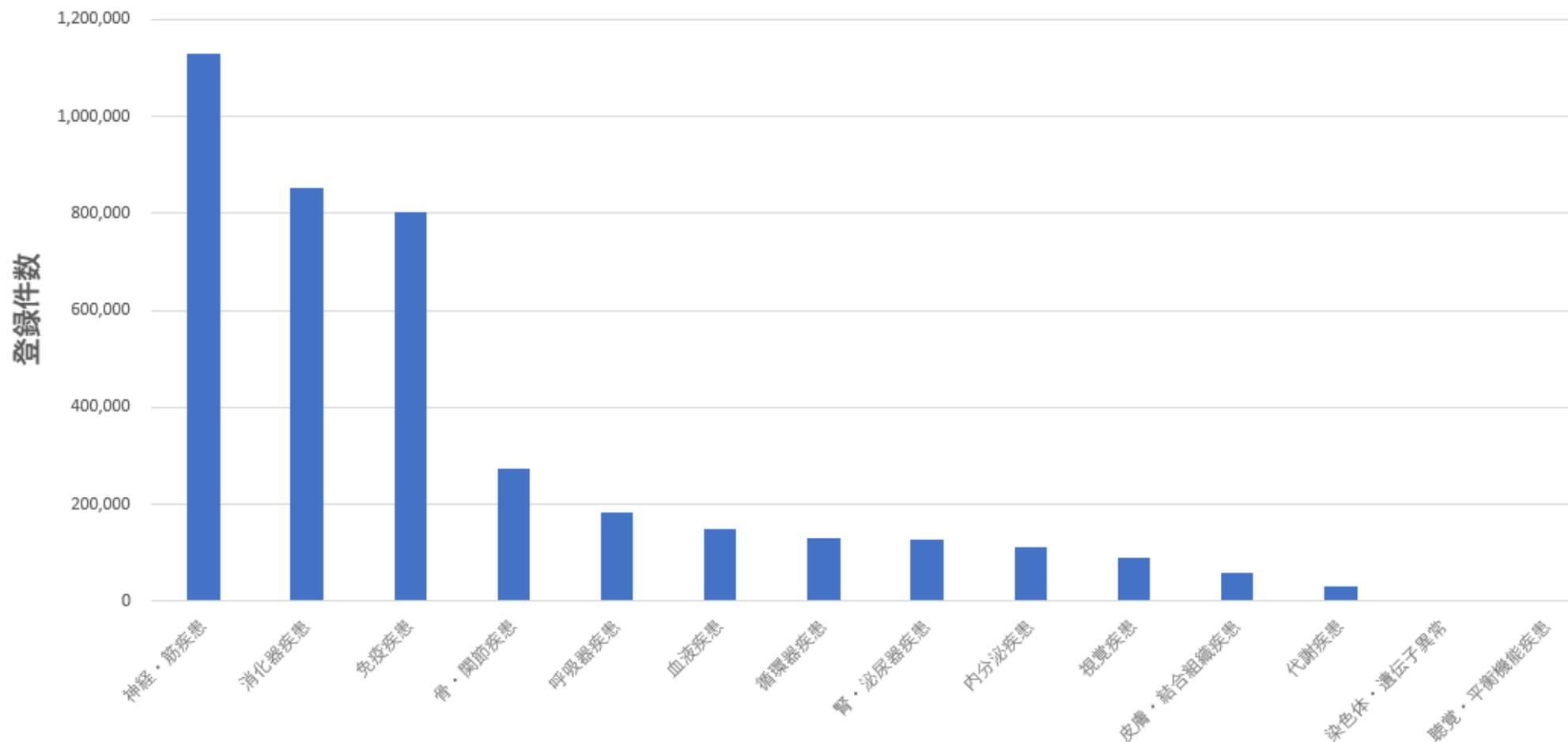
# 製薬企業における難病DB・小慢DBのデータ活用（イメージ）

製薬企業の研究開発においては、主に、①特定の患者群に係る疫学情報の整理・把握や、②個別の患者の新たなデータの収集・患者へのアプローチに向けた情報の把握・分析、などに活用できる可能性がある。

活用の目的	期待される活用例
①特定の患者群に係る疫学情報の整理・把握 (Retrospective)	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 開発したい治療薬の対象疾患の全体患者数や状態別患者数等により、<b>市場規模、治験の実行可能性を評価できる可能性</b>がある。</li><li>○ 患者全体の疾患活動性スコアや重症度分類の経時的変化をまとめた情報等により、<b>対象疾患の自然歴の全体的な傾向を把握できる可能性</b>がある。</li></ul> <hr/> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 患者の年齢層や性別、症状、遺伝子型等の区分ごとの疾患活動性スコアや重症度分類の経時的変化の情報等により、<b>対象疾患の詳細な自然歴を把握できる可能性</b>がある。</li><li>○ 個別の患者の症状スコア、疾患活動性スコア、重症度分類等の治療効果のアウトカム指標になり得る実際のデータの把握や、各データの平均値や標準偏差等の各種統計量を評価すること等により、<b>治験における適切なアウトカム指標（サロゲートエンドポイントを含む）の設定、必要サンプルサイズの算出に利用できる可能性</b>がある。</li><li>○ 患者個々の背景情報とその後の経過等を参照することで、<b>治験へのエントリーの適格基準の適切な設定に役立てられる可能性</b>がある。</li></ul>
②個別の患者の新たなデータの収集・患者へのアプローチに向けた情報の把握・分析 (Prospective)	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 対象疾患を多く診断・治療している医療機関の分布状況等を把握・分析することにより、<b>患者細胞・組織等の研究サンプルの採取依頼等を行う際や、医療機関に対する治験への参入依頼や実施している治験の情報提供を行う際の参考データとして有用である可能性</b>がある。</li></ul>

## (参考) 難病DBの登録状況 (令和4年度末: 400万件)

疾患群\*ごとの臨個票登録件数 (概算)



\* 疾患群の分類は難病情報センター(<https://www.nanbyou.or.jp/>)の情報を使用

# (参考) 全身性強皮症の臨床調査個人票

## ■ 診断基準に関する事項

### A. 症状

診断年月	診断時または最重症時	西暦	年	月
<b>部位別の状況</b>				
手指あるいは足趾を越える皮膚硬化	<input type="checkbox"/> 3. 不明			
手指あるいは足趾に局限する皮膚硬化	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
手指尖端の陥凹性壊疽	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
指腹の萎縮	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
四肢の冷感、しびれ感、レイノー現象	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
爪上皮内出血点	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
手指足趾潰瘍	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
潰瘍	<input type="checkbox"/> 1. あり	<input type="checkbox"/> 2. なし	<input type="checkbox"/> 3. 不明	
皮膚硬化 (スキンスコア)				
手指	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
手背	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
前腕	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
上腕	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
顔	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3 前胸部 <input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3			
腹部	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3			
大腿	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
下腿	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
足背	右	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3	左	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3
心・循環器症状				
伝導異常	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明			
不整脈	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明			
呼吸苦	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明			

## 治療薬、投与量、治療効果等

■ 治療その他	
薬物療法	
局所薬物療法	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
副腎皮質ステロイド	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	プレドニゾン換算 最大投与量 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> mg/日
治療効果	<input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明
免疫抑制剤	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	薬剤名 (自由記載) *50 文字以内かつ3 行以内
	最大投与量 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> mg/日
	治療効果 <input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明
非ステロイド系 抗炎症薬	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	薬剤名 (自由記載) *50 文字以内かつ3 行以内
	最大投与量 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> mg/日
	治療効果 <input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明
プロスタサイクリン	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	治療効果 <input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明
ACE 阻害剤	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	治療効果 <input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明
その他の薬剤	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし <input type="checkbox"/> 3. 不明
	薬剤名 (自由記載) *50 文字以内かつ3 行以内
	最大投与量 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> mg/日
	治療効果 <input type="checkbox"/> 1. 改善 <input type="checkbox"/> 2. 不変 <input type="checkbox"/> 3. 悪化 <input type="checkbox"/> 4. 不明

■ 重症度分類に関する事項			
重症度			
1. 皮膚	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
2. 肺	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
3. 心臓	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
4. 腎	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
5a. 上部消化管	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
5b. 下部消化管	<input type="checkbox"/> 0. normal	<input type="checkbox"/> 1. mild	<input type="checkbox"/> 2. moderate
	<input type="checkbox"/> 3. severe	<input type="checkbox"/> 4. very severe	
■ 人工呼吸器に関する事項 (使用者のみ記入)			
使用の有無	<input type="checkbox"/> 1. あり		
開始時期	西暦 <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> 年 <input type="text"/> <input type="text"/> 月		
離脱の見込み	<input type="checkbox"/> 1. あり <input type="checkbox"/> 2. なし		
種類	<input type="checkbox"/> 1. 気管切開孔を介した人工呼吸器 <input type="checkbox"/> 2. 鼻マスク又は顔マスクを介した人工呼吸器		
施行状況	<input type="checkbox"/> 1. 間欠的施行 <input type="checkbox"/> 2. 夜間に継続的に施行 <input type="checkbox"/> 3. 一日中施行 <input type="checkbox"/> 4. 現在未施行		

## 重症度や人工呼吸器の状況

# (参考) 現在の難病DB活用事例

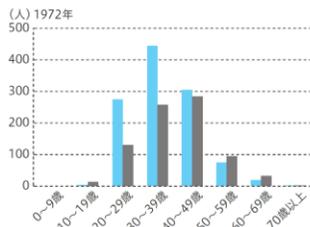


図2 1972年におけるベーチェット病患者の性別および年齢の分布  
(厚生労働省：衛生行政報告例：結果の概要。http://www.mhlw.go.jp/toukei/list/36-19a.html (アクセス日：2019年8月22日)より作成)

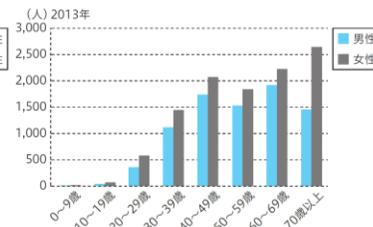


図3 2013年におけるベーチェット病患者の性別および年齢の分布  
(厚生労働省ベーチェット病データベースより作成)

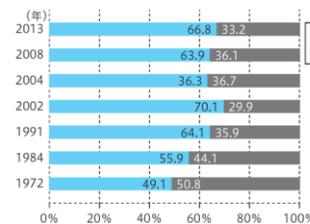


図4 男性患者における病型別頻度の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

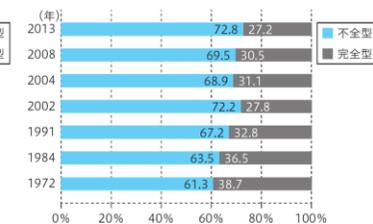


図5 女性患者における病型別頻度の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

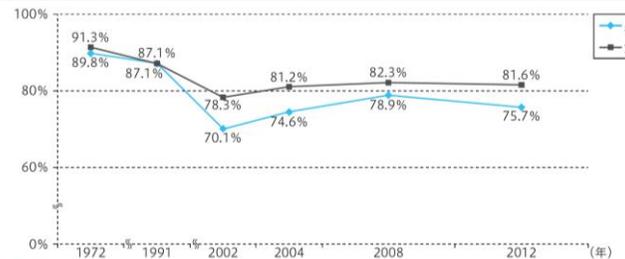


図8 皮膚症状の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

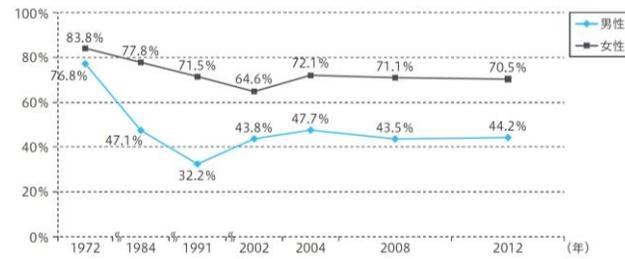


図9 外陰部潰瘍の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

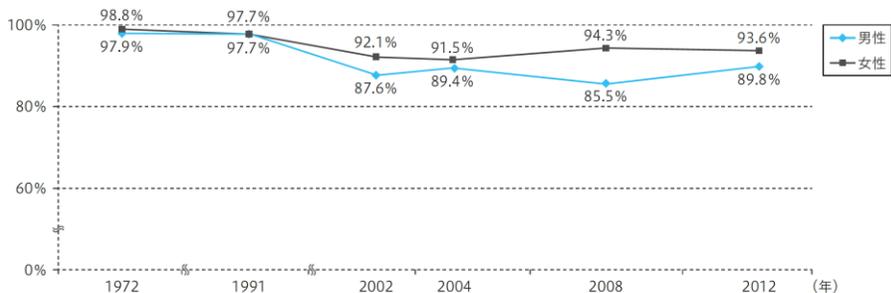


図6 口腔内の再発性アフタ性潰瘍の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

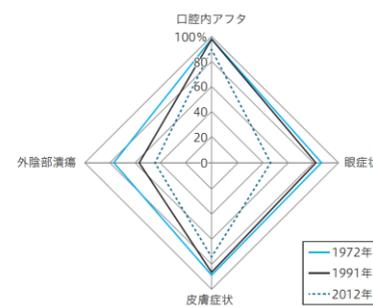


図10 男性患者における主症状の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

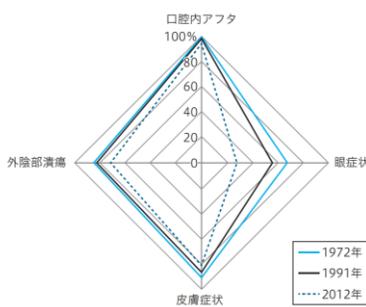


図11 女性患者における主症状の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

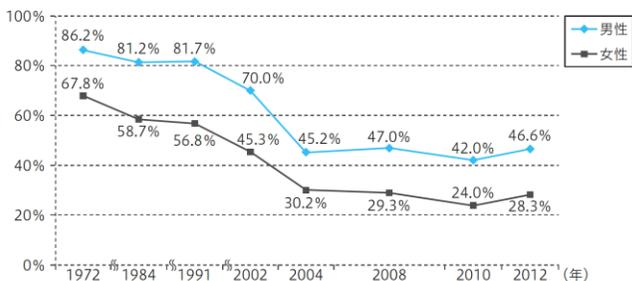


図7 眼症状の有病率の推移  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

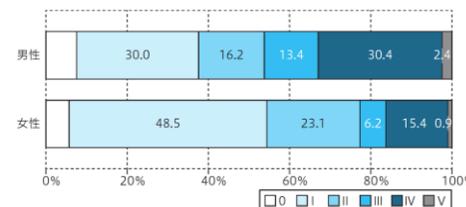


図12 ベーチェット病2010臨床調査個人票(新規・更新)による10,926例のStage(重症度)分布(ただし、Stage不明を除く)  
(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

表2 ベーチェット病2010臨床調査個人票(新規・更新)の治療状況(複数選択あり)

治療	新規・更新(11,075例)
なし・経過観察	333 (3.0%)
対症療法	1,813 (16.4%)
局所薬物療法	1,944 (17.6%)
副腎皮質ステロイド	4,029 (36.4%)
免疫抑制薬	1,325 (12.0%)
コルヒチン	4,985 (45.0%)

(厚生労働省臨床個人票データベースより作成)

# 改正法による匿名データ利用者の義務等について

改正法により、匿名データ利用者に対しては、その情報の取扱いに関する義務等が課されることとなるが、義務の適切な履行を図るため、厚生労働大臣による立入検査や是正命令に関する必要な規定が整備されている。また、匿名データに係る不適切な利用等に対しては、必要な罰則規定が設けられている。

匿名データ利用の際の義務等	違反した場合の対応
<p><b>&lt;照合等の禁止&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 本人を識別する目的での他の情報との照合等の禁止 (難病法第27条の3、児福法第21条の4の3)</li></ul>	<p><b>&lt;立入検査等&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 報告・帳簿書類の提出命令、義務違反に係る立入検査、是正命令 (難病法第27条の7・第27条の8、 児福法第21条の4の7・第21条の4の8)</li></ul>
<p><b>&lt;消去&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 利用する必要がなくなった場合の情報の消去 (難病法第27条の4、児福法第21条の4の4)</li></ul>	<p><b>&lt;罰則&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 匿名データの内容をみだりに他人に知らせ又は不当な目的に使用した者・厚労大臣による是正命令に違反した者は1年以下の拘禁刑若しくは50万円以下の罰金に処し又はこれを併科する(難病法第45条、児福法第60条の3)</li></ul>
<p><b>&lt;安全管理措置&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 情報の漏洩等の防止のための安全管理措置 (難病法第27条の5、児福法第21条の4の5)</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 厚労大臣による報告の求めや立入検査等に対し、適切な対応を行わない者は50万円以下の罰金に処する(難病法第46条、児福法第61条の5)</li></ul>
<p><b>&lt;不当利用等の禁止&gt;</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>○ 知り得た匿名データの内容をみだりに他人に知らせること又は不当な目的での利用することの禁止 (難病法第27条の6、児福法第21条の4の6)</li></ul>	

3

## 参考資料

# 指定難病患者データベースに関する規定

- 難病法において、調査及び研究の推進に関する国の責務が規定されている。
- 基本方針において、データベースの構築に関する具体的な事項（データの提供、収集に関する患者・指定医の努力義務、他のデータベースとの連携、製薬企業等における利活用等）が規定されている。

○難病の患者に対する医療等に関する法律（抄）（平成26年法律第50号）  
（国及び地方公共団体の責務）

第三条

3 国は、難病に関する調査及び研究並びに難病の患者に対する医療のための医薬品及び医療機器の研究開発の推進を図るための体制を整備し、国際的な連携を確保するよう努めるとともに、地方公共団体に対し前二項の責務が十分に果たされるように必要な技術的及び財政的援助を与えることに努めなければならない。

第二十七条 国は、難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保を図るための基盤となる難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進するものとする。

○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

(1) 基本的な考え方について

難病の患者に対する医療費助成制度は、法に基づいて適切に運用することとし、医学の進歩等の難病を取り巻く環境に合わせ適宜その運用を見直すとともに、本制度が難病に関する調査及び研究の推進に資するという目的を踏まえ、**指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等（以下「指定難病患者データ」という。以下同じ。）を適切に収集する。**

(2) 今後の取組の方向性について

イ（中略）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、個人情報の保護等に万全を期すとともに、難病の患者は、必要なデータの提供に協力し、指定医は、正確な指定難病患者データの登録に努める。**

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（中略）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

(2) 今後の取組の方向性について

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。**

# 小児慢性特定疾病児童等データベースに関する規定

- 児童福祉法において、調査及び研究の推進に関する国の責務が規定されている。
- 基本方針において、データベースの構築に関する具体的な事項（指定難病患者データベースとの連携等）が規定されている。

## ○児童福祉法（抄）（昭和22年法律第164号）

第二十一条の四 国は、小児慢性特定疾病の治療方法その他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（第三項及び次条において「疾病児童等」という。）の健全な育成に資する調査及び研究を推進するものとする。

## ○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（抄）（平成27年厚生労働省告示第431号）

### 第2 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6 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患者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。

# 難病対策の推進のための患者データ登録整備事業

令和5年  
7月10日

第70回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策  
委員会・第1回社会保障審議会小児慢性特定疾  
病対策部会小児慢性特定疾病対策委員会

参考資料  
2

令和5年度予算額 12億円 (15億円) ※ ()内は前年度当初予算額

令和4年度補正予算額 5.5億円

## 1 事業の目的

指定難病等の医療費助成の支給認定申請の際に都道府県等に提出される臨床調査個人票等の情報を登録する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（難病DB等）について、関係審議会により難病法及び改正児童福祉法施行5年後見直しの方向性を整理した「難病・小慢対策の見直しに関する意見書」に基づき、都道府県等から指定された指定医からの診断書オンライン登録を実現するための改修等を行う。

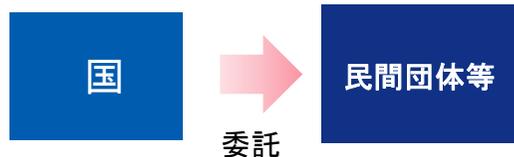
## 2 事業の概要・スキーム等

### 【事業概要】

➤ 難病DB等に関して、現行DBの運用に加え、本格運用に向けて以下業務を行う。

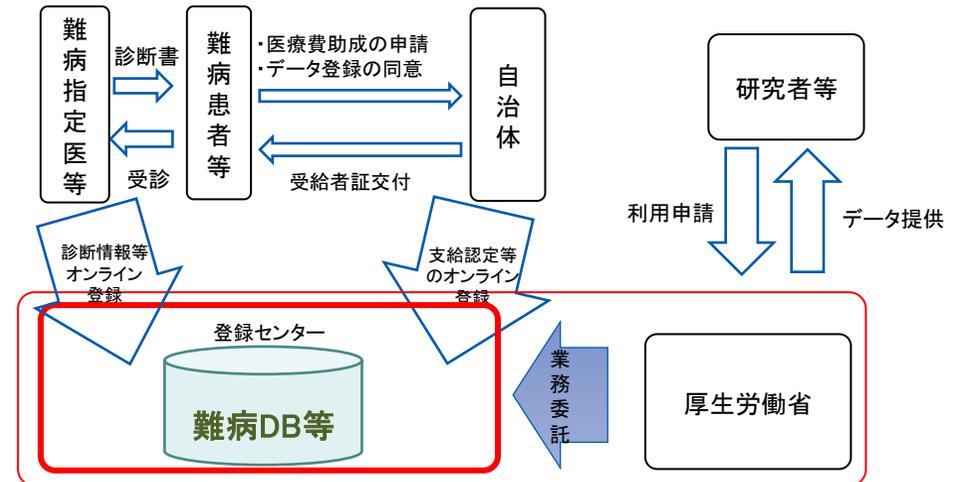
- (1) 本格運用に向けたシステム整備
- (2) 難病法及び改正児童福祉法施行5年後見直しの検討過程で生じた臨床調査個人票等の内容改正等の反映
- (3) 本年8月に発生した指定難病患者DBからの個人情報流出事案をふまえ、再発防止を図るためのCSVデータのRDB（リレーショナルDB）化 等

### 【実施主体、補助率等】



### 【効果】

➤ 難病対策等に関する医療費助成の支給認定業務のDX化が促進される。



【データベース登録のオンライン化後のデータ登録の流れ】

## 審査方針（案）について

### 審査方針（案）

- 「指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関する有識者会議」（以下、「有識者会議」という。）において取りまとめられた「指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関するガイドライン」（以下、「ガイドライン」という。）に基づき審査を行うこととする。
- 個別審査については、研究計画内容及び個人情報の保護等の観点から非公開の形式で行うこととする。

## 主な審査事項について（1）

主な審査事項	審査内容
基本情報	提供依頼申出者、依頼申出者の所属、研究課題、所属機関、代理人、所属機関の倫理審査の承諾の有無を確認
1. ガイドライン等の了承の有無	本ガイドライン及び難病等患者データの提供に関し厚生労働省がホームページ等で周知した内容を了承していることを確認
2. 所属機関の了承の有無	所属機関が了承していること、様式1-1の確認
3. 利用目的	研究の名称、研究の必要性、研究の概要、研究の計画及び実施期間、他の情報との照合の有無、外部委託の希望、成果の公表方法、公表される内容
4. 提供するデータの内容	抽出対象期間、疾病名、利用項目、研究内容に鑑みて最小限であるとする根拠
5. 利用場所、保管場所及び管理方法	利用場所・保管場所、管理方法等、チェックしていない項目についての理由等 運用フロー図、リスク分析・対応表、運用管理規定、自己点検規定、所属組織の個人情報保護に関する規定を確認
6. データの利用期間	原則2年以内の間で、必要最小限の期間

## 主な審査事項について（2）

主な審査事項	審査内容
7. データを取り扱う者	利用者（提供依頼申出者を含む。）について全員の氏名、所属、職名及び利用場所を確認。研究機関の在職証明書・在学証明書等を確認
8. 過去の実績	当該研究に関連する分野における提供依頼申出者又は利用者の過去の実績を証する資料を確認
9. 現に提供を受け今後提供を依頼する予定の他のデータ	現に提供を受けている場合は、措置報告書又は利用実績報告書の提出予定日を確認
10. 過去の提供履歴	有無、有りの場合その内容・期間、罰則の適用の有無
11. データの提供方法	提供の方法（媒体）、希望するファイル数、データの受取方法