

これまでに表示された主な意見

1. 医療費助成制度について

(1) 対象疾病の考え方について

合同委員会で示された論点

- 指定難病に指定されていない疾病については、研究が進んでおらず、当該疾病の患者は不安な日々を送っていることから、そうした患者に支援が行き届くよう、すべての難病を指定難病の対象とすることを検討することとしてはどうか。
- 医療費助成の対象疾病については、制度の公平性や安定性を確保するため、引き続き、難病法制定時に整理された指定難病の各要件を満たす疾病として医学的見地から判断されたものとすべきではないか。また、仮に対象疾病の要件を見直す場合には、難病法制定時の議論も踏まえ他制度との公平性や財政的な影響を考慮する必要があることから、現行の指定難病以外の難病患者の人数や抱えている困難の程度、新たに生じる財政的な影響の程度などについて、客観的なデータ等に基づいて議論すべきではないか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 現行の難病法において、難病は「発病の機構が明らかでなく、治療法が確立していない希少な疾病であって長期の療養を要するもの」と規定しており、これに該当する疾病については、難病法に基づく調査研究や療養生活環境整備事業の対象となっている。
- ⇒ 「指定難病」については、難病対策委員会の議論を踏まえ、公平かつ安定的な制度を確立する観点から、対象となる疾病の範囲を明確にするため、患者数が人口の0.1%程度以下であること、客観的な診断基準が確立していることを要件としているところ。
- ⇒ このような事実関係も踏まえ、医療費助成の対象疾病の考え方についてどのように考えるか。

参考資料

- p31 難病医療費助成の対象疾病に関するこれまでの提言
- p33 難病法における難病の定義

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 対象疾病の考え方については、引き続き、法制定時に整理された基本的な考え方を踏襲し、指定を行うこととしてはどうか。
- 指定難病の医療費助成制度は、調査研究促進のためのデータ収集など、他の医療費助成制度とは異なる考え方なども含まれており、単に「他制度との公平性」と短く言い切ってしまうのではなく、可能であればもう少し具体的な表現で記載してほしい。

難病法における難病の定義

- 難病法では、難病を「発病の機構が明らかでなく、治療方法が確立していない、希少な疾病であって、長期の療養を必要とする疾病」と定義し、幅広い疾病を対象として調査研究・患者支援等を推進している。
- さらに、同法では、難病のうち、患者数等の一定の要件を満たす疾病に対して、医療費助成を行っている。

難病

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

患者数等による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病を幅広く対象とし、調査研究・患者支援を推進

例：悪性腫瘍は、がん対策基本法において体系的な施策の対象となっている

指定難病

難病のうち、患者の置かれている状況からみて良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いもので、以下の要件の全てを満たすものを、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定

- 患者数が本邦において一定の人数（注）に達しないこと
- 客観的な診断基準（又はそれに準ずるもの）が確立していること

（注）人口のおおむね千分の一（0.1%）程度に相当する数と厚生労働省令において規定している。

医療費助成の対象

指定難病の拡充

○ 医療費助成の対象疾病（指定難病）については、難病法施行以後、厚生科学審議会疾病対策部会指定難病検討委員会において検討を行い、その検討結果を踏まえ、順次、対象疾病の追加指定を行っている。



医療費助成の基本的な考え方に関するこれまでの提言

- 難病医療費助成は、治療研究を推進する目的と福祉的な目的を併せ持つものとして、広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組みを構築することとされている。

難病対策の改革に向けた取組について（報告書）
（平成25年12月13日 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会）

第3 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

1. 医療費助成の基本的な考え方

- 症例が比較的少ない難病については、各医療機関・研究機関の個別の研究に委ねていては、データの集積もままならず、原因の究明や治療方法の開発等に困難をきたすおそれがある。そのため、医療費助成を行うことにより、一定の症例を確保し、蓄積できた難病患者データを研究事業に結びつけることで治療研究に役立てる必要がある。
- また、難病は、原因が不明であって、治療方法が確立されていないため、長期にわたる療養が必要となり、その結果、比較的若い時期から長期にわたり高額な医療費の負担が必要となる場合も多い。医療保険制度における高額療養費制度により一定の負担軽減が図られているが、こうした難病特有の事情を踏まえれば、難病対策として医療費の助成を行うことが必要である。
- したがって、新たな難病対策における医療費助成は、
 - ① 治療方法の開発等に資するため、難病患者データの収集を効率的に行い、治療研究を推進するという目的に加え、
 - ② 効果的な治療方法が確立されるまでの間、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという福祉的な目的も併せ持つものとし、広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組みとなるよう、必要な財源を確保する。

(2) 対象疾病の見直しについて

合同委員会で示された論点

- 指定難病検討委員会において今後実施される指定難病の指定後の研究の進捗状況のフォローを通じて、将来的には、調査研究及び医療技術の進展による治療方法の進歩に伴い、指定難病とは言い難いような状況の変化が生じていると判断される疾病が出てくることが想定されることを踏まえ、当該疾病の取扱いの方向性について、検討を行うこととしてはどうか。
- 難病医療費助成制度は、難病以外の他の疾病と比較して、医療費に係る患者負担の軽減が図られていることを踏まえると、附帯決議も踏まえつつ、指定難病の見直しを行う場合の手続について、検討を行うこととしてはどうか。
- 指定難病の指定の見直しに当たっては、患者が抱える生活上の困難も考慮し、医療費助成の対象外となることで受診抑制が起こるなど、治療や療養生活に影響が出ることはないよう、考慮することが必要ではないか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 法制定時の難病対策委員会の取りまとめにおいては、「効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、「対象疾患等検討委員会（仮称）」において定期的に評価し、見直すこととする」とされている。また、平成31年3月の指定難病検討委員会のとりまとめにおいては、「指定難病の指定後の状況を本委員会でフォローしていく必要がある」とされている。このような法制定時の議論や附帯決議、その後の指定難病検討委員会での議論も踏まえつつ、疾病の見直しの在り方やその基準等についてどのように考えるか。
- ⇒ 指定難病の指定の見直しが当該疾病の患者の生活に与える影響について、どのように考えるか。
- ⇒ また、小児慢性特定疾病の見直しについては、どのように考えるか。

参考資料

- p31 難病医療費助成の対象疾病に関するこれまでの提言
- p43 指定難病の見直しに関する直近の議論
- p289～292 附帯決議

(2) 対象疾病の見直しについて

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- もし治療方法がある程度確立してきた指定難病があるのであれば、他の慢性疾患患者との公平性を考えると、今後、指定難病から外していくという仕組みは必要ではないか。
- 医療費助成によって治療を継続することにより症状が安定している患者について、医療費助成から外すことにより治療が受けられなくなることがないように配慮するべきである。
- 希少性の定義については、人口構成の急激な変化も考慮した方がいいのではないか。
- 希少性の要件を設けている趣旨が、民間主導では進みにくい疾患の調査研究を促進することであることに鑑みると、企業において治療薬の開発が進んできた疾病について、見直しを行うこととしてはどうか。
- 難病患者の就労状況等を勘案しても、難病患者を受け入れる社会が十分に実現されているとは言えない中、指定難病から外してしまうことがいいのかどうか、十分に考慮して考えていただきたい。
- 本来の制度の趣旨を踏まえると、希少性が高く研究が十分進まないために治療方法が確立せず長期の療養を要しているといった本当の意味での難病に研究費を充てるべきであることも踏まえて、検討する必要がある。
- 合同委員会の論点にある「指定難病とは言い難いような状況の変化が生じていると判断される疾病」については、より具体的なイメージが必要ではないか。また、指定の解除を議論する際には、そのための基準が必要ではないか。
- 現行制度でも、軽症の患者は重症度基準により対象から外れることを踏まえると、指定難病の見直しは最終段階であって、最後の1人が治る治療法が確立するまでは指定を外す必要はないのではないか。
- 指定難病の見直しは、他制度との公平性ではなく、あくまで技術的变化を踏まえて議論が行われるべきではないか。
- 指定の見直す際の意思決定の流れやプロセスを明確にしておく必要があるのではないか。
- 指定難病の告示病名については、非常に包括的な病名になっているものもあれば、個別の病名になっているものもあり、カテゴリーがバラバラである。仮にこのような状態で見直しについて議論すると、包括的な病名のもの1つを対象から外した場合、実際には多くの疾病が対象から外されてしまうため、まずは現行の告示病名について整理することが必要ではないか。
- 小児慢性特定疾病の見直しについては、児童福祉法の理念である「児童の健全育成」や子どもの権利条約の視点を踏まえた議論を進めていただきたい。

対象疾病の見直しに関する法制定時の議論

- 法制定時の難病対策委員会のとりまとめでは、「効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、「対象疾患等検討委員会（仮称）」において定期的に評価し、見直すこととする」とされている。
- また、法制定時の附帯決議では、対象疾病の見直しに当たっては、「患者数だけでなく、患者の治療状況や指定難病に指定された経緯等も考慮しつつ、慎重に検討すること」とされている。

難病対策の改革に向けた取組について（報告書）（抄）（平成25年12月13日 難病対策委員会）

第3 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

2. 医療費助成の対象疾患及び対象患者について

（3）対象疾患の選定等を行う第三者的な委員会

- 効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、「対象疾患等検討委員会（仮称）」において定期的に評価し、見直すこととする。

難病の患者に対する医療等に関する法律案に対する附帯決議（平成26年5月20日参議院厚生労働委員会）

政府は、本法の施行に当たり、次の事項について適切な措置を講ずるべきである。

- 1 指定難病の選定に当たっては、診断基準の作成に係る研究状況等を踏まえて対応するとともに、疾病数の上限を設けることなく、医学、医療の進歩等を踏まえて対象とすること。また、今後の指定難病の見直しに当たっては、患者数だけでなく、患者の治療状況や指定難病に指定された経緯等も考慮しつつ、慎重に検討すること。

児童福祉法の一部を改正する法律案に対する附帯決議（平成26年5月20日参議院厚生労働委員会）

政府は、本法の施行に当たり、次の事項について適切な措置を講ずるべきである。

- 1 小児慢性特定疾病の選定に当たっては、診断基準の作成に係る研究状況等を踏まえて対応するとともに、疾病数の上限を設けることなく、医学、医療の進歩等を踏まえて、類縁疾患も含め、対象とすること。また、今後の小児慢性特定疾病の見直しに当たっては、患者の治療状況や小児慢性特定疾病に指定された経緯等も考慮しつつ、慎重に検討すること。

※衆議院においても同様の附帯決議が議決されている。

指定難病の見直しに関する直近の議論

- 平成31年3月の指定難病検討委員会において取りまとめられた「今後の指定難病の検討の在り方について」においては、指定難病の指定後の状況を同委員会でフォローしていくとともに、「治療方法の進歩に伴い、指定難病とは言い難いような状況の変化が生じていると判断される疾病」の取扱いの方向性について、検討を行う必要性が指摘されている。

「今後の指定難病の検討の在り方について」

- 本委員会は、今回の指定難病の追加の検討を通じて、今後の指定難病の検討の在り方に関し、以下の点を確認した。

(中略)

(2) 指定後の研究の進捗状況等のフォローに関して

- ① 近年の調査研究及び医療技術の進展により、**一部の指定難病において治療成果の大幅な向上がみられるなどの状況の変化が生じている**ことに鑑み、指定難病に指定された全疾病について、指定後の調査研究の進捗状況や治療方法の開発状況等に関する報告を各研究班に定期的に求めるなど、**指定難病の指定後の状況を本委員会でフォローしていく必要がある**こと。
 - ② その際、特に、i) 医療費助成の支給認定を受けた患者がいない疾病 又は ii) 指定時の研究班からの報告にある患者数と実際の認定患者数に大幅な乖離がある疾病については、認定患者がいない(少ない)理由について研究班から報告を求めることとする。
 - ③ ①のフォロー及び②の報告を踏まえ、診断基準等への最新の医学的知見の反映、各研究班における指定難病患者への医療費助成制度の更なる普及啓発などの対応について、本委員会で必要に応じ検討することとする。
 - ④ また、**将来的には、①のフォローを通じて、調査研究及び医療技術の進展による治療方法の進歩に伴い、指定難病とは言い難いような状況の変化が生じていると判断される疾病が出てくることが想定されることを踏まえ、当該疾病の取扱いの方向性について、検討を行う必要がある**こと。
- 以上を踏まえ、本委員会は、事務局に対し、今後、必要な対応を行うことを求める。

(3) 移行期支援について（医療費助成及び移行期医療支援体制）

合同委員会で示された論点

- 小児から成人への切れ目のない支援を実現するため、20歳を超えて医療費助成の対象から外れた小児慢性特定疾病の患者に対し、どのような支援が必要か、検討することとしてはどうか。
- 小児医療から成人期医療への移行期支援体制の支援を進めるために、移行期医療支援センターの早期設置や人員配置、大学病院への支援体制の整備や、子ども病院と大学病院との連携システムを整備することについて、検討することとしてはどうか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 「小児から成人への切れ目のない支援」に関し、指定難病と小児慢性特定疾病対象疾病のそれぞれの制度の趣旨の違いも踏まえつつ、移行に当たっての支援どのように考えるか。
- ⇒ 各都道府県における現在の移行期医療支援センターの整備状況について、どう考えるか。
- ⇒ 各都道府県における移行期医療支援体制の整備を進めるために、今後国が行っていくべき支援策について、具体的にどのように考えるか。

参考資料

- p29 難病と小児慢性特定疾病の医療費助成の比較
- p41 小児慢性特定疾病と指定難病の指定状況について
- p142～152 (3) 移行期医療提供体制について

(3) 移行期支援について (医療費助成)

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 小児慢性特定疾病のうち、指定難病として指定されているものは増加してきているが、現時点において約半数にとどまっている。指定難病の要件に合致するのであれば、きちんと拾い上げていただきたい。
- 小児がんなど他の施策体系において医療費助成を実施していないものについては指定難病として指定すべき。
- 小児慢性特定疾病の医療費助成制度について、児童福祉法の趣旨や法制定時の附帯決議等を踏まえ、類縁疾患も含め、多くの疾病を広くすくい上げるような形にしていきたい。
- 指定難病の要件を満たさない疾病について、新たな助成制度や、小慢の対象年齢の延長ということを含め検討が必要ではないか。
- 難病の医療費助成制度については、調査研究の観点から、客観的診断基準に基づき診断された患者のデータを基にする必要があるため、類縁疾患を含めることは難しい側面がある。
- 「シームレスな医療」は必要だが、医療費助成をシームレスに行うべきかどうかについては、予算の関係もありどのように考えるべきか議論が必要。
- 客観的診断基準が確立していないために指定難病として指定されていない小児慢性特定疾病については、診断基準の確立に向けた研究を促進することが重要。
- トランジションについては、予算事業時からこの制度が抱えている問題であり、とりまとめでも、小慢を卒業した患者に対する何らかの施策についても検討すべきといった形など、この問題への対応における心意気を明記すべきではないか。

(3) 移行期支援について（移行期医療支援体制）

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

これまでのWGにおける主な御意見

- 移行期医療といっても、小児科と内科で連携が取れるところは実はさほど多くない。その意味では、難病診療連携拠点病院は大きな大学病院も多いと思うので、移行期医療センターの役割を担うことができると良いのではないか。
- 移行期医療支援センターについて、患者目線で使いやすい仕組みとすることが必要。
- 移行期医療支援センターの設置を促進するため、更なる予算措置等のインセンティブが必要ではないか。
- 移行期医療支援体制の地域における構築を進めるためには、移行期医療支援センターの設置やコーディネーターの配置のほか、関係する医療機関に対する「移行期加算」のような診療報酬上のインセンティブが必要ではないか。
- 移行期医療支援体制の検討に当たっては、体制全体の検討に加え、個別の医療機関内の連携についても検討が必要ではないか。
- 移行期医療支援センターの設立に当たっては、まずは行政が、センターの必要性を病院の先生に理解してもらえるよう働きかけることが重要ではないか。
- 施設内に小児科と成人期の診療科が共存する総合病院と比較すると、子ども病院の方が移行に当たって困難を抱えているため、特に対策が必要ではないか。
- 医療サイドにおける啓発や環境整備併せて、患者及びその家族の自立支援についても、両輪として取り組んでいく形で是非進めていただきたい。

難病と小児慢性特定疾病の医療費助成の比較

- 難病と小児慢性特定疾病の医療費助成は、それぞれの根拠法である難病法、児童福祉法の趣旨・目的に則して、対象疾病の要件、対象者の基準等が設定されている。

| | 特定医療費（難病） | 小児慢性特定疾病医療費（小児慢性特定疾病） |
|---------|--|---|
| 根拠法 | 難病の患者に対する医療等に関する法律 | 児童福祉法 |
| 制度の目的 | ① 治療方法の開発等に資するため、難病患者データの収集を効率的に行い、治療研究を推進するという目的に加え、② 効果的な治療方法が確立されるまでの間、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという福祉的な目的を併せ持つ （「難病対策の改革に向けた取組について」（平成25年12月厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会）） | 児童の健全育成を目的として、治療の確立と普及を図り、併せて患児家庭の医療費負担の軽減に資する （「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方」（報告）（平成25年12月 社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾病患児への支援の在り方に関する専門委員会）） |
| 対象疾病の要件 | 下記の6要件を満たす疾病を厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定。 ①発病の機構が明らかでない ②治療方法が確立していない ③希少な疾病である ④長期の療養を必要とする ⑤患者数が本邦において一定の人数に達しない ⑥客観的な診断基準が確立している ※他の施策体系が樹立されていない疾病を対象とする。 | 下記の4要件を満たす疾病を厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いて指定。 ①慢性に経過する疾病であること ②生命を長期に脅かす疾病であること ③症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾病であること ④長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾病であること |
| 対象疾病数 | 331疾病 | 756疾病 |
| 対象者 | ・年齢制限無し | ・18歳未満（ただし、引き続き治療が必要と認められる場合には、20歳未満まで。） |
| 自己負担 | 医療保険の自己負担分に対して法律に基づき公費助成（ただし、所得状況に応じて負担額の上限あり） | 医療保険の自己負担分に対して法律に基づき公費助成（ただし所得状況に応じて負担額の上限あり）（難病医療費助成の自己負担額の1/2） |
| 実施主体 | 都道府県、指定都市 | 都道府県、指定都市、中核市、児童相談所設置市 |
| 国庫負担率 | 負担割合：国 1/2、都道府県等 1/2 | 負担割合：国 1/2、都道府県等 1/2 |
| 予算 | 1,084億円（令和元年度予算） | 152億円（令和元年度予算） |

小児慢性特定疾病と指定難病の指定状況について

- 平成31年4月時点で小児慢性特定疾病に指定されている756疾病のうち、指定難病にも指定されている疾病は、約半数（364疾病）となっている。

| | 疾患群 | 小児慢性特定疾病の対象疾病数 | 左記のうち指定難病にも該当する疾病数 |
|----|--------------------|----------------|--------------------|
| 1 | 悪性新生物 | 86 | 0 (0%) |
| 2 | 慢性腎疾患 | 44 | 17 (39%) |
| 3 | 慢性呼吸器疾患 | 14 | 6 (43%) |
| 4 | 慢性心疾患 | 92 | 22 (24%) |
| 5 | 内分泌疾患 | 82 | 35 (43%) |
| 6 | 膠原病 | 24 | 22 (92%) |
| 7 | 糖尿病 | 6 | 1 (17%) |
| 8 | 先天代謝異常 | 126 | 91 (72%) |
| 9 | 血液疾患 | 49 | 15 (31%) |
| 10 | 免疫疾患 | 49 | 45 (92%) |
| 11 | 神経・筋疾患 | 75 | 55 (73%) |
| 12 | 慢性消化器疾患 | 43 | 17 (40%) |
| 13 | 染色体または遺伝子に変化を伴う症候群 | 31 | 22 (71%) |
| 14 | 皮膚疾患 | 12 | 10 (83%) |
| 15 | 骨系統疾患 | 16 | 4 (25%) |
| 16 | 脈管系疾患 | 7 | 2 (29%) |
| | 計 | 756 | 364 (48%) (※) |

(※) 指定難病の告示病名の中には複数疾病を包含しているものがあり、1つの指定難病に複数の小児慢性特定疾病が該当することがあるため、現在の指定難病の告示病名数（331疾病）を上回った疾病数となっている。

(資料出所) 医薬基盤・健康・栄養研究所 秋丸裕司研究代表「厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業 難病対策の推進に寄与する実践的基盤提供にむけた研究 研究結果」より作成

小児慢性特定疾病児童成人移行期医療支援モデル事業

- 移行期医療の体制整備を促進するため、小児期と成人期とで提供される医療が異なる疾病領域の成人期の医療機関を対象とし、移行期医療を円滑に進めるためのツール（移行支援ツール）を用いた研修を実施。移行支援ツールの有用性や課題の検討を行った。

背景

小児慢性特定疾病児童への小児期から成人期に向けた診療にあたっては、患児の成長・発達を踏まえつつ、個々の疾患の状態の変化にあわせた医療を提供するため、小児期及び成人期を担当する医療従事者の連携の強化が必要。現在、それぞれの診療体制の医療従事者間の連携が必ずしも円滑に行われていない。

対象疾病例

・先天性心奇形 ・先天性腎奇形 ・甲状腺機能低下症など

モデル事業の流れ

【評価委員会】



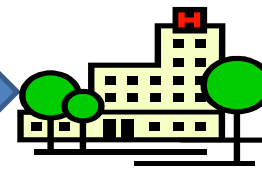
全国複数のブロックで評価委員会を設置（関係診療科の医師らで構成）。具体的な移行支援ツールを検討。

【移行先での研修】



移行先（成人対象の医療機関）において、移行支援ツールを活用し研修。

【移行先での調査】



移行先（成人対象の医療機関）において、移行支援ツールがどのように使われているかを調査し、課題の把握等を行う。



モデルの構築
↓
移行期医療の体制整備

【モデル事業実施医療機関】

東京都立小児総合医療センター/東京都立多摩総合医療センター、長野県立こども病院/信州大学医学部附属病院、福岡こども病院/九州大学病院、国立循環器病研究センター、大阪母子医療センター、国立成育医療研究センター/国立国際医療研究センター、東京大学医学部附属病院小児科

移行期医療支援ツールについて

- 移行期医療を進めるため、モデル事業の成果や医療機関・学会による移行期医療支援ツールをまとめたwebサイトを作成している。また、難治性疾患政策研究班で移行期支援コアツールの作成を進めている。

【小児期発症慢性疾患を持つ患者のための移行支援・自立支援webサイト】

Transition Support
情報共有サイト

移行期医療とは

事業概要

協力医療機関

協力者

協力学会

支援ツール・資料・情報

関連文献

ゲスト
小児期発症慢性疾患を持つ患者のための移行支援・自立支援

移行期医療支援 Health Care Transition

子どもたちが 成長・発達にあわせて…
つねに適切な医療を受けられるように
自分の健康を自分で守っていきけるように
ひとりひとりに必要な移行期支援を目指して…

お知らせ

2018.9.25 【重要】10月1日(月) 17:00~18:00 はメンテナンスのため、Webサイトにアクセスできなくなります。

2017.9.29 Webサイトがオープンしました。

更新情報

現在、更新情報はありません。

事務局・お問い合わせ

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター内 移行期医療支援事業事務局
〒157-8535 東京都世田谷区大蔵2-10-1 TEL:03-3416-0181 (代表) 内線:5341
【受付時間】 平日 午前9時30分から午後4時30分まで
Email: transition-support@shouman.jp

お問い合わせの際には、ご氏名、ご連絡先(e-mailおよび電話番号)、お問い合わせ内容をお伝え下さい。
また、内容により返答にお時間を要することもございますのでご了承ください。

サイトマップ || 個人情報保護方針 || 当ウェブサイトの利用について || 【お問い合わせ: transition-support@shouman.jp】
(C)National Center for Child Health and Development All rights reserved.

<https://transition-support.jp/>

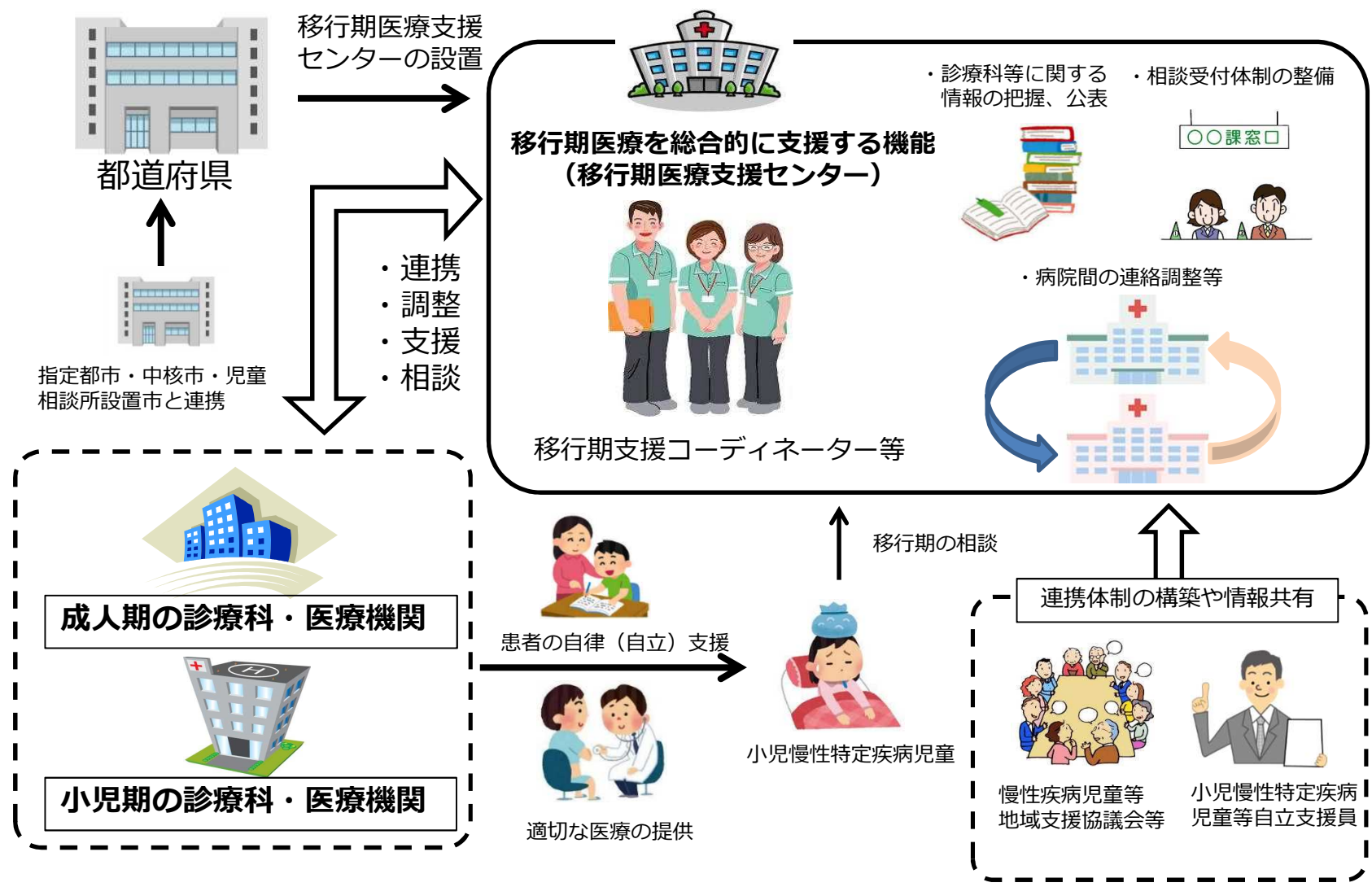
【移行期支援ツールの開発】

- 「Generic Core Guide(コアツール)」は、支援者向けに、子どもから大人への成長に伴って必要となる支援について解説するガイド。
- 現在、難治性疾患政策研究事業(※)において、日本版コアツール「慢性疾患を持つ患者のための成人移行支援コアガイド」を作成中。

※ 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業「小児期発症慢性疾患を持つ移行期患者が疾患の個別性を超えて成人診療へ移行するための診療体制の整備に向けた調査研究班」(研究代表者:国立成育医療研究センター 窪田満、研究期間:平成29年度~令和元年度)

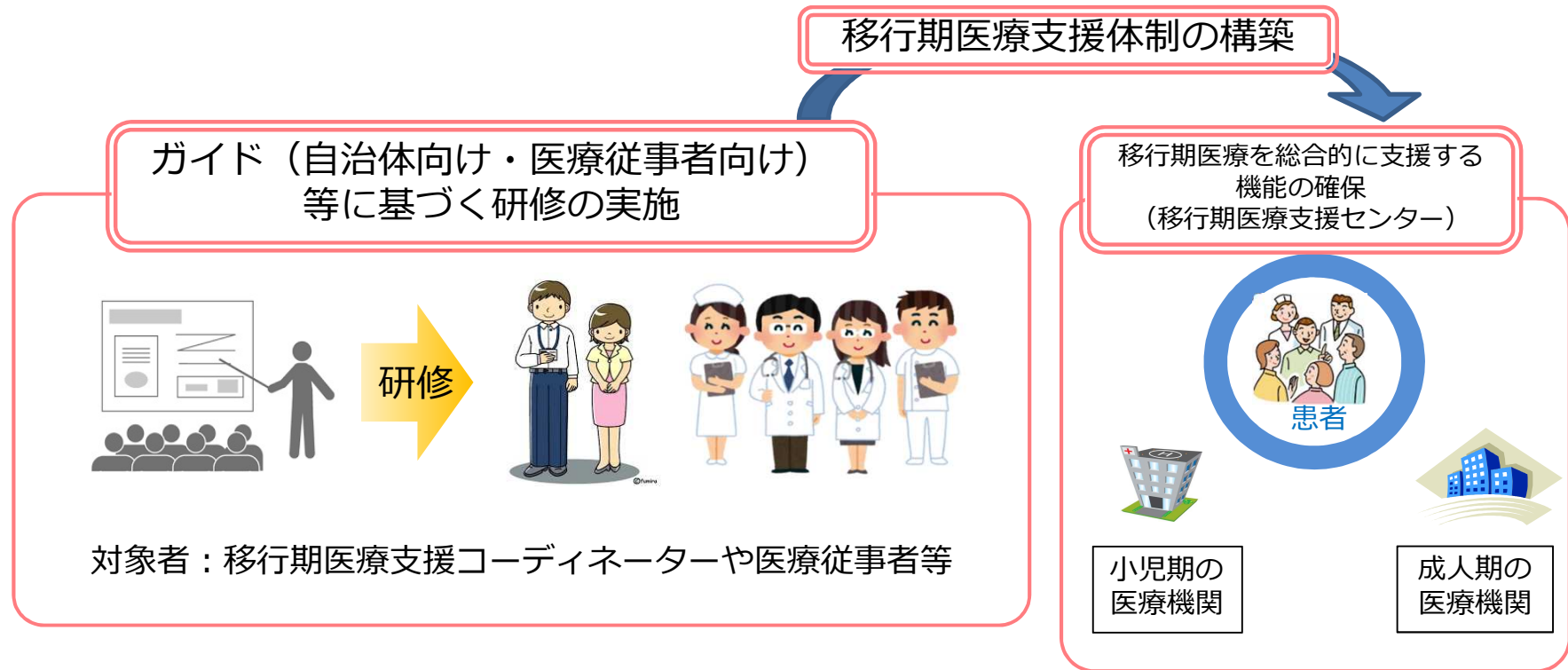
都道府県における移行期医療支援体制構築のイメージ

○ 都道府県が設置する移行期医療支援センターに配置される移行期支援コーディネーターが、都道府県内の医療提供体制を把握し、成人移行に関する相談支援や医療機関間の連絡調整を行うことにより、小児慢性特定疾患患児等が適切な医療を受けられるよう支援を行う。



小児慢性特定疾病児童等支援者養成事業

- 移行期医療センターに配置されている移行期医療支援コーディネーター等に対し、移行期支援に関するガイド（都道府県向けガイド及び医療従事者向けガイド）等を踏まえた研修を実施している（平成30年11月から全国8ブロック（東京、大阪、仙台、名古屋、岡山、新潟、福岡、愛媛）において実施）。



都道府県における移行期医療支援センターの整備状況について

- 平成30年度より移行期医療支援体制整備事業を開始。本年4月時点で、3箇所が移行期医療支援センターとして指定されている。
- なお、設置できない主な理由としては、現状把握ができてない、関係医療機関との調整ができていない、難病の医療提供体制整備を優先している等の回答があった。

平成31年4月時点

| 実施都道府県名 | 実施機関名 |
|---------|--------------|
| 埼玉県 | 埼玉県立小児医療センター |
| 千葉県 | 千葉大学医学部附属病院 |
| 大阪府 | 大阪母子医療センター |

設置できない主な理由

- ・ 県内の現状把握及び整理ができていないため。
- ・ 県内の関係医療機関等との調整ができていないため。
- ・ 難病の医療提供体制整備に目処がついた後、取り組む予定のため。

小児慢性特定疾病の指定における類縁疾患の取扱いについて

○ 医療費助成の対象となる小児慢性特定疾病については、厚生労働省告示において定めており、その中では「～に掲げるもののほか、○○」という形で類縁疾患も対象となるよう規定している。

- 児童福祉法第六条の二第一項の規定に基づき厚生労働大臣が定める小児慢性特定疾病及び同条第二項の規定に基づき当該小児慢性特定疾病ごとに厚生労働大臣が定める疾病の状態の程度（平成26年12月18日厚生労働省告示第475号）（抄）

第1表 悪性新生物（抄）

| 区分 | 番号 | 疾病名 |
|-------------------|------|---|
| 固形腫瘍（中枢神経系腫瘍を除く。） | 1 | 悪性胸腺腫 |
| | 2～42 | （略） |
| | 43 | 1から42までに掲げるもののほか、固形腫瘍（中枢神経系腫瘍を除く。） |

第2表 慢性腎疾患（抄）

| 区分 | 番号 | 疾病名 |
|-----|------|-----------------------------|
| 腎奇形 | 5 | 寡巨大糸球体症 |
| | 6～10 | （略） |
| | 11 | 5から10までに掲げるもののほか、腎奇形 |

第3表 慢性心疾患（抄）

| 区分 | 番号 | 疾病名 |
|-----|----|----------------------------|
| 血管輪 | 17 | 左肺動脈右肺動脈起始症 |
| | 18 | 重複大動脈弓症 |
| | 19 | 17及び18に掲げるもののほか、血管輪 |

(4) 医療費助成の対象患者の認定基準について

合同委員会で示された論点

- 難病法制定時に、「医療費助成の対象患者は、広く国民の理解を得る観点から、対象患者に罹患している患者であって、日常生活又は社会生活に支障がある者とする」という考え方に基づいて重症度基準が導入された経緯も踏まえ、現行の重症度基準について、他制度との均衡や疾病間の公平性の観点から、検討を行うこととしてはどうか。
- 重症度基準について、同一の疾患群に属する疾病であっても、当該疾患群内で共通で用いられている基準を採用している疾病と疾患特異的基準を採用している疾病があることから、疾患群内で共通で用いられている基準を使用する際の基準を明確にすることとしてはどうか。
- 疾病によっては、現行の重症度基準では疾病特異的な症状を十分に考慮できていないものもあることから、患者の抱える症状や生活状況の困難度を適切に評価できるよう、基準の見直しが必要ではないか。
- 服薬の効果により軽症な状態を維持している患者も多いことから、医療費助成の対象外となることで受診を抑制し重症化することのないよう、現行の重症度分類による選別をやめ、継続して治療が必要なすべての患者を医療費助成の対象とすることが必要ではないか。
- 重症度基準を満たさない軽症者であっても、医療費が一定以上の場合、医療費助成の対象となる仕組み（軽症高額該当）があることから、こうした仕組みも含めて、現行の対象患者の認定基準全体を評価することが必要ではないか。
- 重症度基準を満たさず、また、軽症高額にも該当しないために医療費助成の支給認定が不認定となった患者（軽症者）について、その実態やニーズを踏まえ、どのような支援が必要か、検討を行うこととしてはどうか。

(4) 医療費助成の対象患者の認定基準について

検討にあたっての事実関係等

⇒ 法制定時の議論において「難病患者への医療費助成について広く国民に理解を得る観点から、医療費助成の対象患者は、対象疾患に罹患している患者であって、日常生活又は社会生活に支障がある者とするのが適切」とされたことも踏まえつつ、重症度基準の意義についてどのように考えるか。

⇒ また、現行の重症度基準は、「個々の指定難病の特性に応じて、日常生活又は社会生活に支障があると医学的に判断される程度」とされており、関係する研究班及び学会等による情報の収集及び整理を受けた指定難病検討委員会での議論を踏まえて個々の疾患単位で決定している。

疾病間の重症度基準選定の公平性・整合性については、「指定難病制度の公平性に関する研究」（研究分担代表者：千葉勉）において、個々の難病政策研究班と連携し、疾病横断的な基準により、各疾病の症状の程度を測ることが可能かどうかを検討がなされたところ。

これらの事実関係を踏まえ、重症度基準の見直しについて、どのように考えるか。

参考資料

- p47 難病医療費助成の対象者に関するこれまでの提言内容
- p51 疾患群ごとの重症度基準の設定状況
- p52 疾病ごとに作成されている重症度分類を用いている群について
- p53 臓器領域等ごとに作成されている重症度分類を用いている群について

(4) 医療費助成の対象患者の認定基準について

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

これまでのWGにおける主な御意見

- 社会保障の観点では、重症度分類によって医療費助成の対象となる患者を区別するべきではないのではないか。
- 指定難病は、症状が多臓器にわたる疾患が多いため、一律の重症度分類を設けることには困難を伴うが、各疾患群である程度統一された基準を用いることについては、その可能性が示唆された。
- 客観的指標だけでは、難病患者の多様な症状を評価しきれない場合があることなどから、重症度基準の設定に当たっては患者会にヒアリングを実施するなどして、患者の困難が評価される指標とするべきである。
- 重症度基準は客観的指標であることが必要であり、引き続き、専門の研究班において議論を行った後、指定難病検討委員会において議論するべきである。
- 重症度基準を見直す際には、現場の混乱が見込まれることから、研究班の協力を得て慎重に検討すべきである。
- 難病法に基づく、難病患者に対する支援は、必ずしも医療費助成だけではないため、難病患者全体を認定した上で、それぞれの患者のニーズに応じて支援の中身を変えていくことが必要ではないか。
- 「広く国民に理解を得る観点から」という点については、法制定時の検討においては、重症・軽症で区別するのではなく、一定の治療を受けている人については医療費助成の対象とすべきといった議論がありつつも、結果的に重症度分類を導入するに至ったということであり、様々な議論を経たものである。

プログラム法における対象患者の認定基準に係る規定

○ 社会保障制度改革国民会議報告書を踏まえ、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（プログラム法）において、難病に係る新たな医療費助成制度の確立に当たっては、制度の公平性・安定性の観点から、患者の認定基準の見直しについて検討を行い、必要な措置を講ずることとされた。

○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（抄）

第二章 講ずべき社会保障制度改革の措置等

（医療制度）

第四条 政府は、高齢化の進展、高度な医療の普及等による医療費の増大が見込まれる中で、医療保険各法（高齢者の医療の確保に関する法律（昭和五十七年法律第八十号。以下「高齢者医療確保法」という。）第七条第一項に規定する医療保険各法をいう。第七項第二号二において同じ。）による医療保険制度及び高齢者医療確保法による後期高齢者医療制度（同項において「医療保険制度等」という。）に原則として全ての国民が加入する仕組みを維持することを旨として、医療制度について、この条に定めるところにより、必要な改革を行うものとする。

2～9 （略）

10 政府は、この法律の施行の際現に実施されている難病及び小児慢性特定疾患（児童福祉法第二十一条の五に規定する医療の給付の対象となる疾患をいう。以下この項において同じ。）に係る医療費助成について、難病対策に係る都道府県の超過負担の解消を図るとともに、**難病及び小児慢性特定疾患に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度（以下この項において「新制度」という。）を確立するため、新制度の確立に当たって、次に掲げる事項その他必要な事項について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。**

一 新制度を制度として確立された医療の社会保障給付とすること。

二 新制度の対象となる疾患の拡大

三 新制度の対象となる患者の認定基準の見直し

四 新制度の自己負担の新制度以外の医療費に係る患者の負担の軽減を図る制度との均衡を考慮した見直し

11 政府は、前項の措置を平成二十六年を目途に講ずるものとし、このために必要な法律案を平成二十六年に開会される国会の常会に提出することを目指すものとする。

難病医療費助成の対象者に関するこれまでの提言内容

- 医療費助成の対象者については、広く国民に理解を得る観点から、「症状の程度が重症度分類等で一定程度以上である者」（重症者）とされ、「高額な医療を継続することにより、症状の程度が上記の重症度分類等で一定以上に該当しない者」（軽症高額該当者）についても医療費助成の対象とすることが適当とされた。

難病対策の改革に向けた取組について (平成25年12月13日 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会)

第3 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

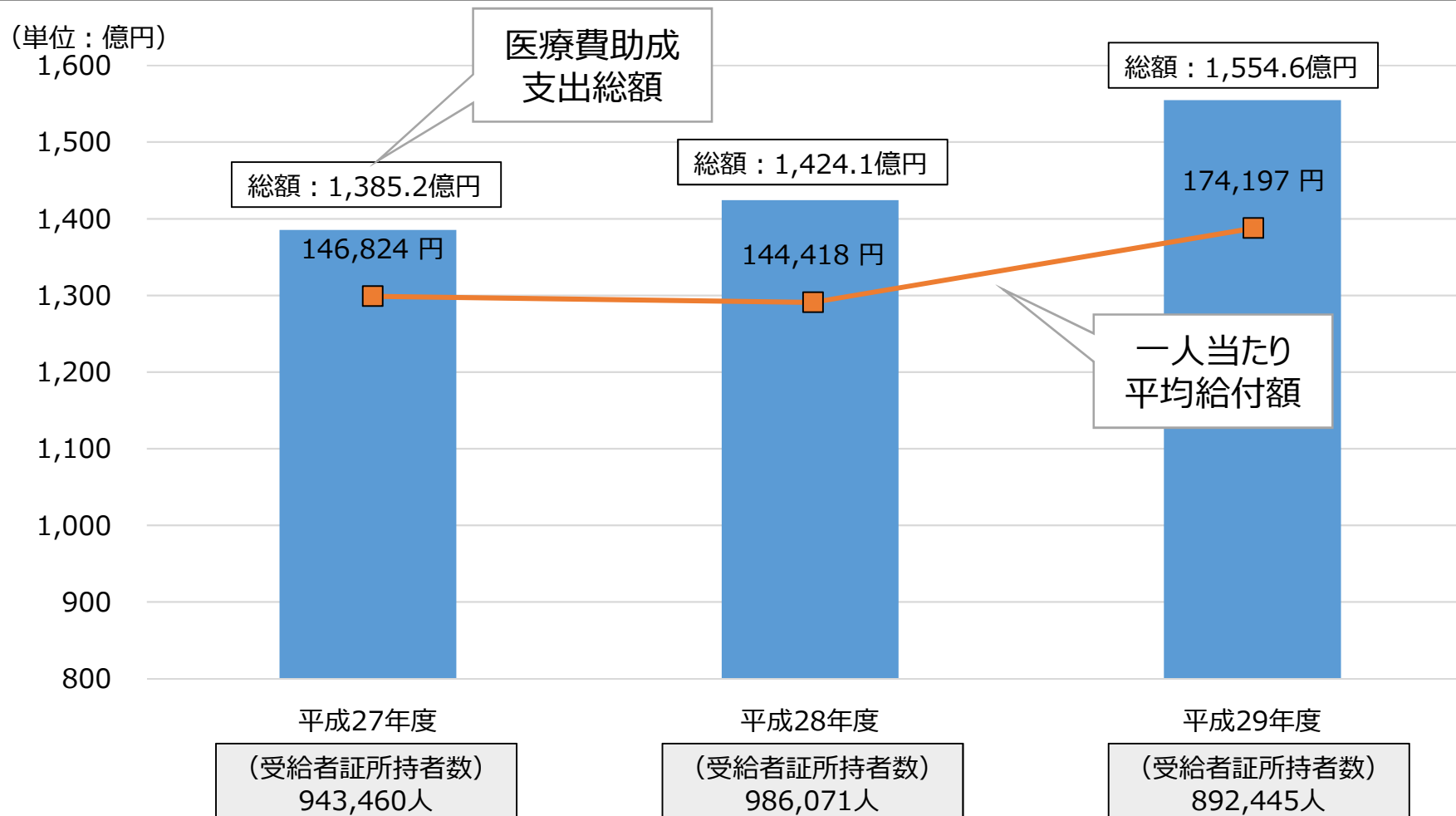
2. 医療費助成の対象疾患及び対象患者について

(2) 対象患者の認定基準

- **難病患者への医療費助成について広く国民に理解を得る観点から、医療費助成の対象患者は、対象疾患に罹患している患者であって、日常生活又は社会生活に支障がある者とする**ことが適切と考えられる。すなわち、**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とする。**
- 具体的には、**医療費助成の対象患者の認定基準について、難病研究で確立された対象疾患の診断基準を踏まえ、それぞれの疾患の特性に応じた重症度分類等を組み込んで設定する。**
- ただし、**高額な医療を継続すること（※）により、症状の程度が上記の重症度分類等で一定以上に該当しない者については、医療費助成の対象とすることが適当である。**なお、都道府県の事務負担を軽減するため、実務上の取扱いについて十分に配慮する。
※ ここでいう「高額な医療を継続すること」が必要な者とは、「月ごとの医療費総額が33,330円を超える月が年間3回以上となる者」（例えば医療保険の自己負担割合が3割の場合、医療費の自己負担が10,000円以上の月が年間3回以上となる者）とする。
- また、難病研究で確立され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。

特定医療費の支給に係る 支出総額と一人当たり平均給付額（推計）の推移

○ 特定医療費の支給に係る支出総額、一人当たり平均給付額（推計）のいずれも、増加している。



(資料出所) 厚生労働省健康局難病対策課作成資料

※ 医療費助成支出額総額は国庫負担金の歳出決算額から推計。受給者証所持者数は、厚生労働省「衛生行政報告例」（平成27～29年度）。一人当たり平均給付額（推計）については、医療費助成支出額総額を受給者証所持者数で除して算出

疾患群ごとに共通の基準を導入することができるかどうかの検討（概要）

○：共通の基準の考え方

※指定研究班より各政策研究代表者へ検討を依頼し、その結果を踏まえて整理

神経筋疾患（82疾患）

- 「BI/mRS」「食事摂取」「呼吸状態」「てんかん」「知能障害」の5つの基準が適応可能と考えられる。
- 例として82疾患のうち、約20疾患はmRSが適応可能と考えられるが、mRSやBIの適応がどうしても困難な疾患もある。

内分泌疾患（23疾患）

- sf36やEQ-5DのようなQOLを測る指標を導入できる可能性がある。mRSやBIといった日常生活動作を測る指標を導入できる可能性がある疾病も多い。
- 他方、疾患群の考え方として治療による改善を重症度分類に加味する必要があると考えられる。

腎疾患（14疾患）

- 現状で、ほぼ全ての疾患に「CKD分類」が導入されている。一方で多くの疾患は腎以外の要素もあるため、CKD以外の基準も必要となる。

先天異常・遺伝子疾患（26疾患）

- 多くの疾患は、従来からの「臓器別の重症度分類の組み合わせ（※）」で対応可能である。※ NYHA分類、CKD分類など

皮膚結合組織疾患（14疾患）

- 疾患によって呈する症状が異なるため、統一化は簡単ではない。
- 病変が多臓器にわたる疾患は、各臓器の基準が必要となる可能性がある。

免疫疾患（27疾患）

- 血管炎疾患は「mRS」や「BI」だけを統一の重症度分類にするのは適切ではない。腎機能障害、視力、聴力など他の指定難病の重症度分類に、用いられている基準を血管炎に用いることは可能かもしれない。
- 膠原病は現行の重症度基準又は疾患特異的な重症度分類で評価することが適切と考えられる。

眼科疾患（6疾患）

- 全体的に「健眼の矯正視力が0.3未満を対象」とすることで統一が可能である。（視野の要素が必要な疾患もある）。また障害者の助成基準との整合性が必要。

耳鼻咽喉科疾患（10疾患）

- 基本的には聴力による重症度分類を適応できる。聴力については他疾患群の聴力の重症度分類と一致させる必要がある。
- 加えて「mRS」を適応し、さらに個別の分類を適応させることで多くは対応可能と考えられる。

血液疾患（14疾患）

- ヘモグロビン、白血球、血小板など、すでに数値で重症度を区分できるもの適応しているが、困難な疾患もある。
- 数値で区分できない疾患については、疾患特有の重症度分類を追加することがよいと考えられる。

呼吸器疾患（9疾患）

- 全体的に「息切れスケールmMRCと動脈血液ガスの2項目」を用いることで、統一化はある程度可能と考えられる。
- 一方で、個々の疾患特有の症状もあるため、疾患特異的な重症度分類の追加は必要。

循環器疾患（27疾患）

- 基本的に多くの疾患が「NYHA分類」で対応可能である。
- 心筋症や血管病変が主体の疾患等についてはNYHA分類だけでなく別の基準が必要。

消化器疾患（20疾患）

- 「child-pugh分類」（肝臓疾患）、「栄養」の基準等を多くの疾患で適応できる可能性がある。
- 一方で、個々の疾患特有の症状もあるため、疾患特異的な重症度分類の追加は必要と考えられる。

骨・関節疾患（12疾患）

- 全体として「mRS」を基本としうが、個別の基準が必要な疾患もある。

形成外科疾患（4疾患）

- 既に全て「mRS」が使用されており、それに呼吸、食事等を併用している。

代謝性疾患（43疾患）

- 疾患群の特性から予後の要素を入れて悪化しないための医療費を助成できるような重症度分類を設けるべき、との意見が強い。

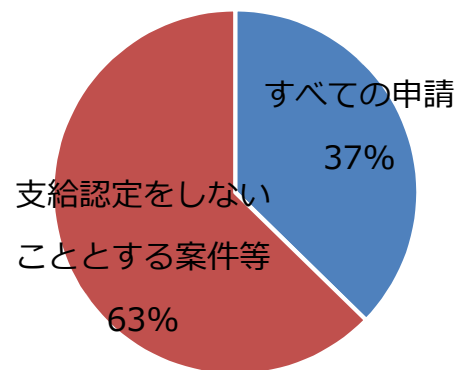
指定難病医療費助成制度における自治体の審査体制について①

- 難病法第7条第2項の規定に基づき、都道府県等が医療費助成の支給認定をしないこととするときは、難病法第8条に規定する指定難病審査会へ諮る必要がある。
- 都道府県等の審査状況については、新規申請の案件について、約4割の自治体が「すべての申請」を指定難病審査会へ諮っている。

(N=67)
(自治体数)

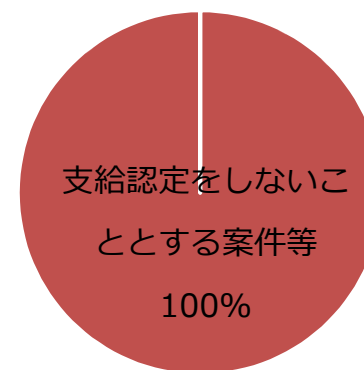
審査会において審査する申請

(新規)



審査会において審査する申請

(更新)



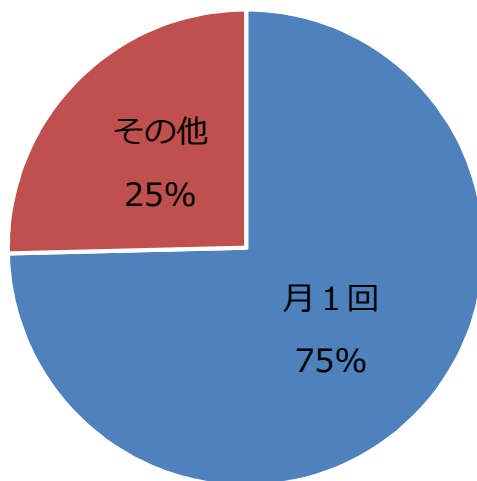
(資料出所) 厚生労働省健康局難病対策課調べ (令和元年6月時点)

指定難病医療費助成制度における自治体の審査体制について②

- 審査会の開催頻度については、約7割の自治体が月1回と回答。
- 開催方法については、書面方式が約4割、参集方式が約5割となっている。
- 審査会の委員数については、「11人から20人」の回答が最も多く、29自治体となっている。

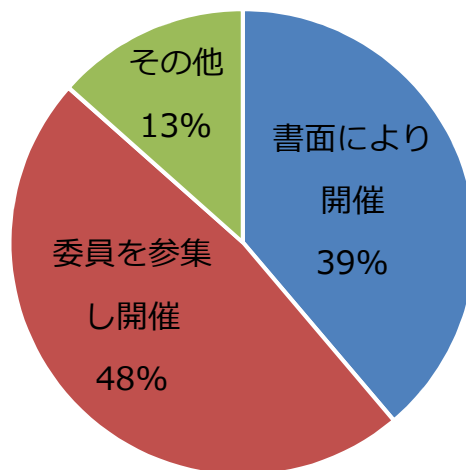
(N=67)
(自治体数)

審査会の開催頻度



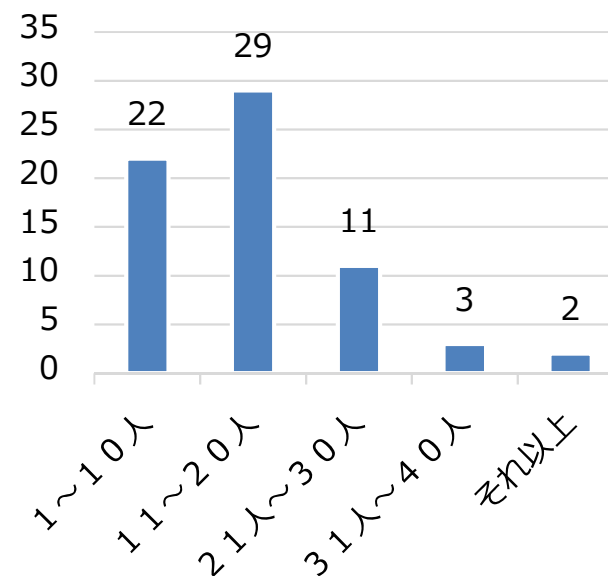
(その他)
・新規申請の審査は概ね月1回、
更新月は複数回 等

審査会の開催方法



(その他)
・更新案件のみ書面 等

審査会の委員数



(資料出所) 厚生労働省健康局難病対策課調べ (令和元年6月)

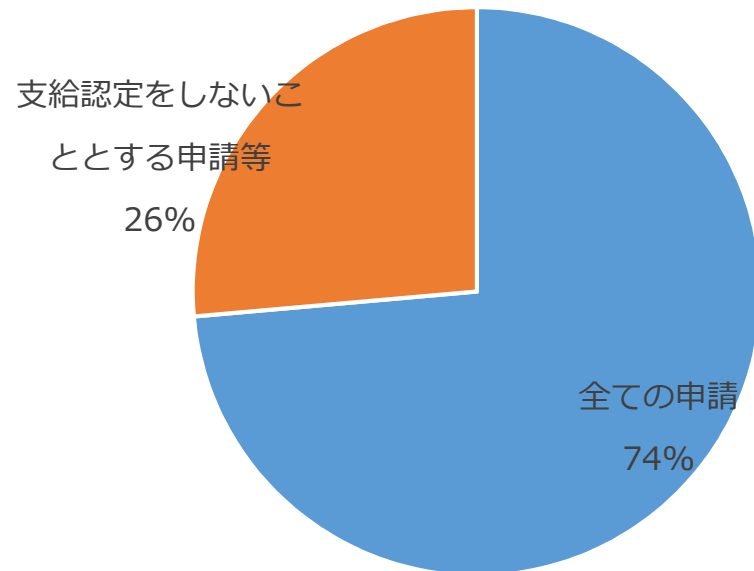
小児慢性特定疾病医療費助成制度における 自治体の審査体制について①

- 児童福祉法第19条の3第4項の規定に基づき、不認定とする申請については、小児慢性特定疾病審査会に諮問が諮る体制となっている。
- 当該規定に基づき支給認定をしないこととする申請等のみを審査会に諮問している自治体と、支給認定することとした申請を含む全ての申請を審査会に諮問している自治体とがある。

(N=125)
(自治体数)

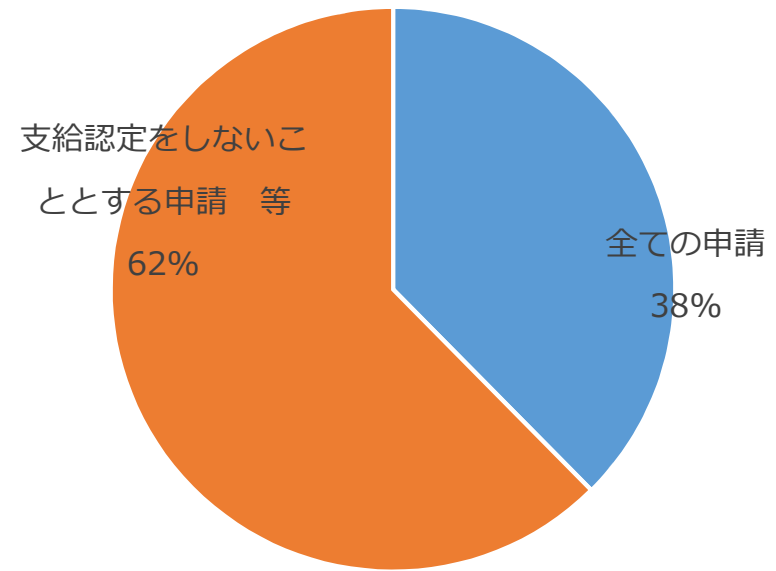
審査会において審査する申請

(新規)



審査会において審査する申請

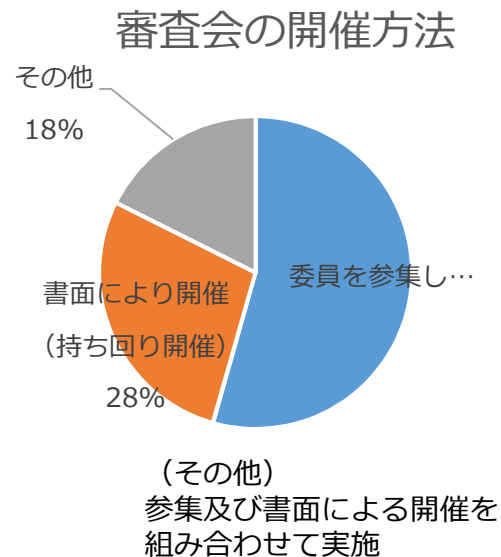
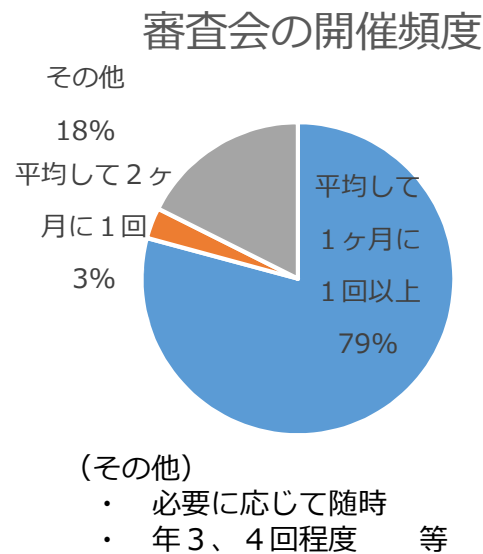
(更新)



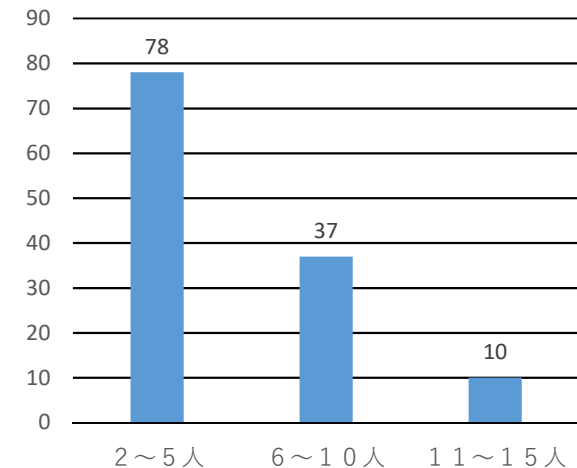
小児慢性特定疾病医療費助成制度における 自治体の審査体制について②

- 審査会の委員には全ての自治体で小児科医を任命し、告示に定める「疾病の状態の程度」を基準に審査を行っている。
- 開催頻度や開催方法、委員数については地域の実情に応じて実施している。

(N=125)
(自治体数)



審査会の委員数



(5) 患者の自己負担について

合同委員会で示された論点

- 現行の自己負担水準が他の類似制度との均衡を考慮して設定されていることを踏まえると、難病患者の就労の改善状況や小児慢性特定疾病児童等の保護者の就労状況、世帯全体における医療費の負担状況など、患者の置かれている状況について、客観的データ等を踏まえて議論すべきではないか。
- 医療費負担の更なる軽減を検討することとしてはどうか。特に、低所得世帯に対する自己負担の軽減や長期に渡る入院の際の食費負担の軽減が必要ではないか。また、遠方の専門医にかかる際に生じる交通費や家族の宿泊費など医療費以外の負担の軽減についても、検討が必要ではないか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 自己負担上限額については、他制度との公平性の観点から、障害者医療制度並びで設定しているところ、このような観点や、難病患者特有の事情等も踏まえつつ、自己負担上限額について、どのように考えるか。

参考資料

- p68～69 医療費の患者負担に関するこれまでの提言
- p71 難病の患者の自己負担額の比較
- p73 指定難病患者における所得区分の分布
- p78 小児慢性特定疾病患者における所得区分の分布

これまでのWGにおける主な御意見

- 小児慢性特定疾病について、育成医療など他制度との公平性の観点から、自己負担割合を2割から1割にしていきたい。
- 小児慢性特定疾病についても、指定難病と同様、軽症高額による認定を行っていただきたい。
- 低所得Ⅰ・Ⅱの方については自己負担をなくす一方、上位所得の方については区分を細分化するなど、より負担できる方に負担していただくような形にした方がよいのではないかと。

難病の患者の自己負担額の比較

○ 難病法に基づく医療費助成における自己負担については、社会保障制度改革国民会議報告書や「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」に基づき、他の類似の医療制度との均衡を考慮して、設定されている。

| 特定疾患治療研究事業 (旧事業) (単位：円) | 指定難病医療費助成制度 (単位：円) () 内は、経過措置適用者の自己負担額 (H29. 12. 31まで) | | | | 【参考】障害者医療費助成制度 (更生医療) (単位：円) | | | | |
|----------------------------|--|--------|---|--------------------|---------------------------------|---------------------------------------|--|----------------|--------|
| 自己負担割合：3割 | | | 自己負担割合：2割 | | | | 自己負担割合：1割 | | |
| | 外来 | 入院 | 外来+入院 | | | | 軽症者(※2)は助成対象外 | 外来+入院 | |
| | | | 一般 | 高額 かつ 長期 | 人工 呼吸器等 装着者 | 一般 | | 重度 かつ 継続 | |
| 重症患者 (※3) | 0 | 0 | | | | | | 0 | 0 |
| A階層 市町村民税非課税 | 0 | 0 | 生活保護 | 0 | 0 | 0 | 生活保護 | 0 | 0 |
| B階層 (~年収165万) | 2,250 | 4,500 | 低所得Ⅰ 市町村民税非課税 (~本人年収80万) | 2,500 | 2,500 | 1,000 | 低所得Ⅰ 市町村民税 非課税 (~本人年収80万) | 2,500 | 2,500 |
| C階層 (~年収180万) | 3,450 | 6,900 | 低所得Ⅱ 市町村民税非課税 (本人年収80万超~) | 5,000 | 5,000 (2500) | | 低所得Ⅱ 市町村民税 非課税 (本人年収80万1~) | 5,000 | 5,000 |
| D階層 (~年収220万) | 4,250 | 8,500 | 一般所得Ⅰ 市町村民税課税以上 7.1万未満 (年収約160~約370万) | 10,000 (5,000) | 5,000 | | 中間所得Ⅰ 市町村民税 課税以上 3万3千円未満 | | 5,000 |
| E階層 (~年収300万) | 5,500 | 11,000 | 一般所得Ⅱ 市町村民税 7.1万以上 25.1万未満 (年収約370~約810万) | 20,000 (10,000) | 10,000 (5,000) | | 医療保険における 高額療養費の自己 負担限度額 高額療養費適用の 場合例：44,400 (多数回該当) | | 10,000 |
| F階層 (~年収400万) | 9,350 | 18,700 | 上位所得 市町村民税 25.1万以上 (年収約810万~) | 30,000 (20,000) | 20,000 (5,000) | 中間所得Ⅱ 市町村民税 3万3千円以上 23万5千円未満 | | | |
| G階層 (年収400万~) | 11,550 | 23,100 | | | | 一定所得 市町村民税 23万5千円以上 | 自立支援医療の対 象外 (医療保険による給 付) 例：83,400 (多数回該当) | 20,000 | |
| 食費：負担限度額内で自己負担 | | | 食費：全額自己負担 (1/2自己負担) | | | | 食費：全額自己負担 | | |

(参考)
難病の医療受給者証を持つ患者が、健康保険における入院時(当該難病の治療を行った場合)の食費
・一般世帯：260円/食(その他、所得等に応じ210円、160円、100円)

(補足)
○ 所得を把握する単位：医療保険における世帯。
○ 所得を把握する基準：市町村民税(所得割)の課税額。
○ 同一世帯内に複数の対象患者がいる場合：
世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分。

指定難病及び小児慢性特定疾病の医療費助成の自己負担について

○ 難病法及び児童福祉法に基づく医療費助成における自己負担については、社会保障制度改革国民会議報告書や「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」に基づき、他の類似の医療制度との均衡を考慮して、設定されている。

| 小児慢性特定疾病に係る医療費助成 (単位：円) | | | | 指定難病医療費助成制度 (単位：円) | | | |
|---|--------|------------|---------------|---|--------|------------|---------------|
| 自己負担割合：2割 | | | | 自己負担割合：2割 | | | |
| | 外来+入院 | | | | 外来+入院 | | |
| | 一般 | 高額かつ 長期 | 人工呼吸器等 装着者 | | 一般 | 高額かつ 長期 | 人工呼吸器等 装着者 |
| 生活保護 | 0 | 0 | 0 | 生活保護 | 0 | 0 | 0 |
| 低所得Ⅰ 市町村民税非課税 (～本人年収80万) | 1,250 | | 500 | 低所得Ⅰ 市町村民税非課税 (～本人年収80万) | 2,500 | 2,500 | 1,000 |
| 低所得Ⅱ 市町村民税非課税 (本人年収80万超～) | 2,500 | | | 低所得Ⅱ 市町村民税非課税 (本人年収80万超～) | 5,000 | 5,000 | |
| 一般所得Ⅰ 市町村民税課税以上 7.1万未満 (年収約200～約430万) | 5,000 | 2,500 | | 一般所得Ⅰ 市町村民税課税以上 7.1万未満 (年収約160～約370万) | 10,000 | 5,000 | |
| 一般所得Ⅱ 市町村民税 7.1万以上25.1万未満 (年収約430～約850万) | 10,000 | 5,000 | | 一般所得Ⅱ 市町村民税 7.1万以上25.1万未満 (年収約370～約810万) | 20,000 | 10,000 | |
| 上位所得市町村民税 25.1万以上 (年収約850万～) | 15,000 | 10,000 | | 上位所得市町村民税 25.1万以上 (年収約810万～) | 30,000 | 20,000 | |
| 食費：1/2を自己負担 | | | | 食費：全額自己負担 | | | |

(補足) ○ 所得を把握する単位：医療保険における世帯。
○ 所得を把握する基準：市町村民税(所得割)の課税額。
○ 同一世帯内に複数の対象患者がいる場合：世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分。

小児慢性特定疾病及び自立支援医療における 給付対象となる医療の範囲について

○ 小児慢性特定疾病に係る医療費助成制度では、対象疾病に関する医療を幅広く助成対象としており、自立支援医療よりも医療費助成の対象となる医療の範囲を広くカバーしている。

小児慢性特定疾病

小児慢性特定疾病及び当該小児慢性特定疾病に付随して発生する傷病に関する医療

- (1) 診察 (2) 薬剤又は治療材料の支給 (3) 医学的処置、手術曾於他の治療
 (4) 居宅における療養上の管理及びその治療に伴う世話その他の看護 (5) 病院又は診療所への入院及びその療養に伴う世話その他の看護
 (6) 移送（医療保険により給付を受けることができない者の移送に限る）

自立支援医療（育成医療）

| 対象になる障害 | | 疾患（例） | 医療（例） |
|-------------------------|---|--------------------------|-----------------------------------|
| 視覚障害 | | 白内障 | |
| | | 先天性緑内障 | |
| 聴覚、平衡機能の障害 | | 先天性耳奇形 | 形成術 |
| 音声機能、言語障害、 そしゃく機能の障害 | | 口蓋裂等 | 形成術 |
| | | 唇顎口蓋裂 | 歯科矯正 |
| 肢体不自由 | | 先天性股関節脱臼、脊椎側彎症、くる病（骨軟化症） | 関節形成術、関節置換術、 義肢装着のための切断端形成術 |
| 内部障害 | 心臓 | 先天性疾患 | 弁口、心室心房中隔に対する手術 |
| | | 後天性心疾患 | ペースメーカー埋込術 |
| | 腎臓 | 腎臓機能障害 | 人工透析療法、腎臓移植術（抗免疫療法含む） |
| | 小腸 | 小腸機能障害 | 中心静脈栄養法 |
| | 肝臓 | 肝臓機能障害 | 肝臓移植術（抗免疫療法含む） |
| | 免疫 | H I Vによる免疫機能障害 | 抗H I V療法、免疫調節療法、その他H I V感染症に対する治療 |
| その他の先天性 内臓障害 | 先天性食道閉鎖症、先天性長閉鎖症、鎖肛、 巨大結腸症、尿道下裂、停留精巣（睾丸） | 尿道形成、人工肛門の造設などの外科手術 | |

(6) 患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について

合同委員会で示された論点

- 申請者である難病患者・小慢患者の利便性の向上、指定医及び都道府県の事務負担の軽減を図るとともに、臨床データの効率的な収集を図るため、医療費助成申請・データ登録のオンライン化を検討することとしてはどうか。
- 重症度基準を満たさないために医療費助成の支給認定が不認定となった患者（軽症者）を対象として、指定難病にかかっていることの証明となる「軽症者登録証（仮称）」を発行し、福祉サービスや就労支援が受けられることや、軽症高額制度や高額長期制度について明記するとともに、登録者に対し保健所や難病相談支援センターからの支援が届くよう、検討することとしてはどうか。
- 軽症者が急激に症状が悪化し入院が必要となる場合など重症化後直ちに医療費助成の申請手続を行うことが困難な場合があることから、軽症者が重症化して医療費助成の支給認定を受けた場合には、重症と診断を受けた日に遡って医療費助成が受けられるよう、検討することとしてはどうか。
- 難病患者の負担軽減を図る観点から、臨床調査個人票及び医療意見書に係る文書料の無償化あるいは軽減を図ることを検討してはどうか。
- 提出書類の省略等の医療費助成の申請手続の簡素化について、検討することとしてはどうか。
- 各自治体における支給認定事務の実態を把握しつつ、支給認定審査マニュアル等の整備や、保険者照会の簡略化、指定医が指定難病データベースに難病患者データを直接登録できる仕組みの整備などにより、自治体の事務負担の軽減を検討することとしてはどうか。
- 医療費助成の支給認定の審査会の運営状況について、地域差が生じていないか調査を行い、適切に実施されているか検証することとしてはどうか。また、審査会における疑義・意見などを受け付ける体制の整備について、検討することとしてはどうか。
- 小児慢性特定疾病児童等については、年齢によって利用する制度や自己負担額が変わっていくことから、小児慢性特定疾病児童等及びその保護者がどの制度を利用し、どのような困難を抱えているか、調査を行い、どのような支援が必要か、検討することとしてはどうか。
- 難病法制定時の附則に基づき、施行の状況を勘案しつつ、医療費助成の支給認定事務の実施主体の在り方について、検討することとしてはどうか。

(6) 患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 軽症者の登録の意義について、どのように考えるか。また、例えば、軽症者の登録を行う場合の具体的な仕組みや、実施にあたっての課題について、どのように考えるか。
- ⇒ 軽症者が重症化した場合に、円滑に医療費助成を受けられることができるような方策についてどのように考えるか。
- ⇒ 小児慢性特定疾病児童等及びその保護者が、医療費に関する支援を適切に利用出来るようにするための方策について、研究成果のヒアリングも踏まえ、どのように考えるか。
- ⇒ 臨床調査個人票及び医療意見書に係る文書料の負担の在り方について、診断書の提出を求めている他の給付制度との公平性の観点や、研究促進の観点も含めてどのように考えるか。
- ⇒ その他、自治体や患者の事務負担軽減の観点から、支給認定事務の実施主体、医療費助成申請・データ登録のオンライン化や提出書類の省略等について、どのように考えるか。

参考資料

○p106～119 (9) 特定医療費の支給認定事務の実施主体について

(6) 患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について (自治体や患者、医師・医療機関の事務負担軽減、認定事務の実施主体)

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 臨床調査個人票及び医療意見書について、患者の経済的負担や事務負担（提出頻度等）の軽減を検討すべきである。
- 文書料については、とりまとめにおいては、現在の仕組みを維持することが適当というよりも、他制度との公平性から維持することはやむを得ないが、オンライン化など運用上の工夫を検討していくとする方がよいのではないか。
- 医療費助成の実施主体について、指定難病の希少性に鑑みると中核市単位で指定難病審査会の委員を確保することは困難であり、事務全体を中核市に移譲した場合、認定事務を効率的に行えなくなる可能性がある。

（６）患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について **（医療費助成の対象とならない患者のデータ登録①）**

これまでのWGにおける主な御意見

- 経過措置終了後に医療費助成の対象から外れてしまった患者に対する支援として、「軽症者登録証（仮称）」が重要であり、そのあり方について名称を含め優先的に検討するべきである。
- 医療費助成とデータの登録を切り分け、がん登録も参考に、難病についても、中長期的には医師が診断時に患者から同意を取った上で、直接登録を行う仕組みについて検討するべきである。
- 子ども医療費を利用している小児慢性特定疾病児童のデータを収集し、研究を促進するために、医師から患児及びその保護者に対し、小児慢性特定疾病の医療費助成制度を活用することによる研究上の意義について、十分に説明してもらうことが必要。
- 軽症の方を把握することがデータベースとして大変重要。軽症患者だけ別に登録するのではなく、まずは診断された時点で全員が登録可能な仕組みとし、その上で重症な患者のみ医療費助成の対象とする、という仕組みとするのがいいのではないか。
- 登録証（仮称）については、交通機関を無償化するなどのメリットを持たせるなど、登録を進める仕組みについて工夫が必要ではないか。

(6) 患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について (医療費助成の対象とならない患者のデータ登録②)

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 登録の頻度については、患者の負担を考えると、3年又は5年ごととするのが良いのではないか。
- 登録の項目については、軽症・重症を問わず診断基準は一定であるため、軽症者・重症者で登録項目を分けない方がいいのではないか。
- 重症者を含め、臨個票のスリム化について検討すべきではないか。加えて、医師が記入すべき部分と、事務担当等が記入して良い部分を明確に分けるなど、タスクシフトが図られるような工夫が必要ではないか。
- 登録証（仮称）については、現行でも医療費助成の不認定通知をもって、障害福祉サービスを受ける際の証明書としていることも踏まえて議論すべき。
- 多くの人にデータを登録してもらうことが重要である一方、希少な疾患に罹患しデータ提供に必ずしも前向きでない患者の方が、不本意ながらデータを登録することがないよう、登録証を持っていることを支援を受ける際の必須要件としない方がいいのではないか。
- 軽症者の登録については、自治体や患者の負担を考えると、オンライン化が必須になってくるのではないか。
- また、データ登録時の患者からの同意取得には、その必要性や、提供されたデータがどのように使われ、どのような研究成果につながるのか、丁寧な説明が必要であるため、同意を取る主体は主治医が適当ではないか。

公費負担医療制度における申請時に必要な書類に係る 文書料の取扱いについて①

○ 公費負担医療制度においては、戦傷病者特別援護法に基づく給付や生活保護等一部の例を除いて、患者本人が文書料を負担している。

| | 法律等名称（略称） | 給付名 | 概要 | 申請時に必要な文書 | 文書料の負担先 | |
|-------------|-------------|--------------------|--|------------------------------------|---------|------|
| 全額国費の公費医療制度 | 戦傷病者特別援護法 | 療養の給付 | 軍人、軍属等の公務上の傷病の医療（療養の給付と同様） | ①症状経過書 ②現症証明書 | 国庫負担 | |
| | | 更正医療 | 公務上傷病による視・聴・言語機能・中枢神経機能の障害や、肢体不自由の更生に必要な医療（療養の給付と同様） | ①症状経過書 ②現症証明書 | 国庫負担 | |
| | 原爆被爆者援護法 | 認定疾病医療 | 認定をうけた被爆者の原爆症についての医療 | 医師の意見書 | 自己負担 | |
| | 感染症法 | 新感染症の患者の入院 | 国民に大なる影響を与えるおそれがある新感染症患者の入院医療（現在は対象となる新感染症なし） | — | — | |
| | 心神喪失者等医療観察法 | 医療給付 | 重大な他害行為を行い心神喪失等で不起訴になった者等に、裁判官及び精神保健審判員が合議の上、決定した入院・通院医療 | — | — | |
| 障害者福祉等 | 障害者総合支援法 | 自立支援医療 | 育成医療 | 障害児の健全な育成を図り、生活の能力を得るために必要な医療 | 医師の意見書 | 自己負担 |
| | | | 更生医療 | 身体障害者福祉法に規定する身体障害者の障害を軽減・除去するための医療 | 医師の意見書 | 自己負担 |
| | | | 精神通院医療 | 精神障害者福祉法に規定する精神障害者に継続的に必要となる通院医療 | 医師の診断書 | 自己負担 |
| | 精神保健福祉法 | 措置入院 | 療養介護医療 | 医療と常時介護を要する障害者が主に昼間に病院等でうける | 医師の診断書 | 自己負担 |
| | | | 基準該当療養介護医療 | 療養介護のうちの医療部分 | — | — |
| 児童福祉等 | 児童福祉法 | 療育の給付 | 18歳未満の結核医療（結核に起因する疾病や治療に支障をきたす併発病を含む） | 療育給付意見書 | 自己負担 | |
| | | 肢体不自由児通所医療／障害児入所医療 | 通所決定障害児の医療型児童発達支援（治療）／入所決定障害児の入所支援（治療） | 医師の診断書 | 自己負担 | |
| | | 措置等に係る医療 | 障害児入所施設への入所措置に係る医療、指定医療機関への入院委託 | — | — | |
| | 母子保健法 | 養育医療 | 入院が必要な未熟児に対する医療と移送 | 養育医療意見書 | 自己負担 | |

※申請時に必要な文書が「—」となっている例は、医療を受ける者の申請を前提としない等の理由により文書料が発生していない例

公費負担医療制度における申請時に必要な書類に係る 文書料の取扱いについて②

| | 法律等名称（略称） | 給付名 | 概要 | 申請時に必要な文書 | 文書料の負担先 | |
|---------------|----------------------|--------------------------------|--------------------------------------|---|-----------------------------------|------|
| 疾病対策 | 難病法 | 特定医療費 | 指定難病患者の認定にもとづく医療 | 臨床調査個人票 | 自己負担 | |
| | 児童福祉法 | 小児慢性特定疾病医療費 | 小児慢性特定疾病患者の認定にもとづく医療 | 医療意見書 | 自己負担 | |
| | | 特定疾患治療研究事業の特定疾患治療費 | スモン、難治性肝炎の劇症肝炎、重症急性肺炎 | 臨床調査個人票 | 自己負担 | |
| | | 先天性血液凝固因子障害等治療研究事業 | 原則20歳以上の認定疾患等についての医療 | 診断書 | 自己負担 | |
| | | 肝炎治療特別促進事業の医療 | B型・C型肝炎のインターフェロン治療等 | 医師の診断書 (肝炎治療特別推進事業) | 自己負担 | |
| 公衆衛生 | 感染症法 | 結核患者の適正医療 | 主に外来診療による化学療法等の結核医療 | 診断書、X線直接撮影写真 | 自己負担 | |
| | | 結核患者の入院 | 勧告等による入院医療 | — | — | |
| | | 感染症患者の入院 | 1類・2類患者等の勧告等による入院医療 | — | — | |
| | 麻薬・向精神薬取締法 | 入院措置 | 麻薬中毒者の措置入院 | — | — | |
| 国家補償・健康被害の救済等 | 原爆被爆者援護法 | 一般疾病医療費 | 被爆者の病気・けが（原爆症等以外） | — | — | |
| | 水俣病総合対策費 | 療養費，研究治療費 | 水俣病患者の病気・けが | 診断書 | 自己負担 | |
| | | メチル水銀の健康影響調査事業の治療研究費 | （医療手帳，保健手帳，被害者手帳，調査研究事業医療手帳等） | 診断書 | 自己負担 | |
| | | 茨城県神栖町の有機ヒ素化合物の健康被害等緊急措置事業の医療費 | ジフェニルアルシンの曝露による病気（他の原因が明らかな病気を除く病気） | — | — | |
| | | 石綿健康被害救済法 | 医療費 | 石綿（アスベスト）吸引を原因とした疾病（労災保険等の補償の対象とならない人） | 診断書 (石綿健康被害救済制度) | 自己負担 |
| | | 特定B型肝炎ウイルス感染者特別措置法 | 定期検査費，母子／世帯内感染防止医療費 | 特定無症候性持続感染者の定期検査 出産後の母子の定期検査や血液製剤投与等 | 医師の診断書 (特定B型肝炎ウイルス感染者給付金) | 自己負担 |
| | | | | | | |
| 公的扶助 | 中国残留邦人等支援法 | 医療支援給付 | 生活に困窮する中国残留邦人等の医療 | ①医療要否意見書 ②検診命令に基づく検診書 ③他法他施策を活用するための診断書 | ①指定医療機関が無償で提供 ②福祉事務所 ③福祉事務所 | |
| | 生活保護法 | 医療扶助 | 保護の決定をうけた生活困窮者の医療 | ①医療要否意見書 ②検診命令に基づく検診書 ③他法他施策を活用するための診断書 | ①指定医療機関が無償で提供 ②福祉事務所 ③福祉事務所 | |
| | 70歳代前半の一部負担金等の軽減特例措置 | 指定公費医療 | 医療保険の高齢受給者「2割負担」を「1割負担」に軽減する費用を国費で負担 | — | — | |

※申請時に必要な文書が「—」となっている例は、医療を受ける者の申請を前提としない等の理由により文書料が発生していない例

(参考) 都道府県及び指定都市における中核市への権限委譲に対する意見

- 厚生労働省が一部の都道府県及び指定都市に対し行ったヒアリングでは、密な連携が可能になるので中核市移譲に賛成するという意見があった一方、審査会の開催について中核市が担うのは難しいのではないかという意見があった。

中核市への権限移譲に賛成の意見

- ・ 密な連携が可能になるので、中核市移譲には賛成。

中核市への権限委譲に反対の意見

- ・ 事務を行う主体がこれ以上増えると、対応の平仄をとるのがより大変になるのではないか。
- ・ 審査会の開催については、委員の負担を考えると、バラバラに開催しないほうが良いのではないか。
- ・ 患者にとってはより身近になることはよいが、審査会を中核市まで下すのは、委員の選定や実施を考えると難しいのではないか。

(参考) 指定難病の医療費助成制度に係る 臨床調査個人票の登録及び送付状況について

データベースへの登録状況 (2019年3月末現在)

| 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 | 記載なし等 |
|-----------|-----------|----------|----------|
| 約310,000件 | 約426,000件 | 約49,000件 | 約13,000件 |

- ※ データベースへ登録を行った臨床調査個人票の件数について、臨床調査個人票に記載された指定医の記載年度別に集計を行っている。入力の対象は、認定・不認定問わず、データの登録について同意がとれた臨床調査個人票を対象としている。
- ※ 衛生行政報告例における受給者数との違いは、①不認定の者が含まれている、②同意がとれていない者は含まれていない、③自治体から送付されていない又は登録作業が完了していない臨床調査個人票が含まれていない。
- ※ 入力は平成29年度から開始している。
- ※ 登録センターにおいて手入力されたデータの件数となっている（OCRで読み込んだ件数は含まれていない。）。
- ※ 指定医の記載日が記載されていない場合には、記載なし等に集計している。

都道府県からの送付状況・送付が困難な理由 (自治体数)

| | 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 |
|------------|--------|--------|--------|
| 1. 送付済み | 30 | 29 | 25 |
| 2. 一部、送付済み | 4 | 7 | 11 |
| 3. 送付予定 | 2 | 2 | 3 |
| 4. 未定 | 7 | 8 | 7 |
| 5. 送付不可 | 4 | 1 | 1 |

- ※ 認定を行った年度毎の臨床調査個人票の送付状況について、自治体の回答に基づき集計している。

送付が困難な理由

- ・ 難病医療費助成に係る業務が多く、優先順位を考えると可能な範囲での対応となっている。
- ・ 複写作業の業務調整及び外部委託等の予算確保が難しいため。

(参考) 小児慢性特定疾病医療費助成制度に係る 医療意見書の登録及び送付状況について

データベースへの登録状況 (2019年6月末現在)

| 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 | 平成30年度 |
|----------|----------|----------|----------|
| 約75,000件 | 約76,000件 | 約64,000件 | 約16,000件 |

- ※ データベースへ登録を行った医療意見書の件数について、医療意見書に記載された指定医の記載年度別に集計を行っている。
入力の対象は、認定・不認定問わず、同意がとれた医療意見書を対象としている。
- ※ 「基本情報」「疾病情報」に分けて入力が行われており、上記件数はどちらか又は両方が入力されている件数となっている。
- ※ 衛生行政報告例における受給者数との違いは、①不認定の者が含まれている、②同意がとれていない者は含まれていない、③自治体から送付されていない又は登録作業が完了していない医療意見書が含まれていない。
- ※ 入力については平成29年度から入力を開始している。
- ※ 指定医の記載年度がないものについては、自治体を通じて確認を行っている。

都道府県・指定都市・中核市からの送付状況・送付が困難な理由 (自治体数)

| | 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 |
|------------|--------|--------|--------|
| 1. 送付済み | 97 | 104 | 92 |
| 2. 一部、送付済み | 0 | 2 | 11 |
| 3. 送付予定 | 10 | 6 | 10 |
| 4. 未定 | 4 | 2 | 2 |
| 5. 送付不可 | 2 | 2 | 1 |

- ※ 認定を行った年度毎の臨床調査個人票の送付状況について、自治体の回答に基づき集計している。
- ※ 新規に中核市になった自治体もあるため、総数が各年度毎に異なる。

送付が困難な理由

- 同意の有無での仕分け、複写、梱包、発送に膨大な作業が必要で有り、人員不足のため対応できない。
- 書類整理に要する臨時職員人件費、コピー費用、送料が必要であるが、予算が確保できない。
- 認定業務を進める中で、人的、時間的余力がない。

2. 医療提供体制について

(1) 難病医療提供体制について

合同委員会で示された論点

- 難病患者がどこに暮らしていても、疾病の特性に応じて早期の診断が付き、適切な治療が受けられるようにするとともに、重症患者の入院施設の確保を図る観点から、診療分野別拠点病院の整備の促進など、分野別の医療提供体制の整備が必要ではないか。
- 住み慣れた地域で安心して療養生活を送ることができる体制の充実を図るため、在宅医療を支える専門医とかかりつけ医の連携強化、レスパイト入院や看護・介助を行う専門スタッフの充実、コミュニケーション支援など、医療提供体制の整備と福祉制度の連携について、検討することとしてはどうか。

検討にあたっての事実関係等

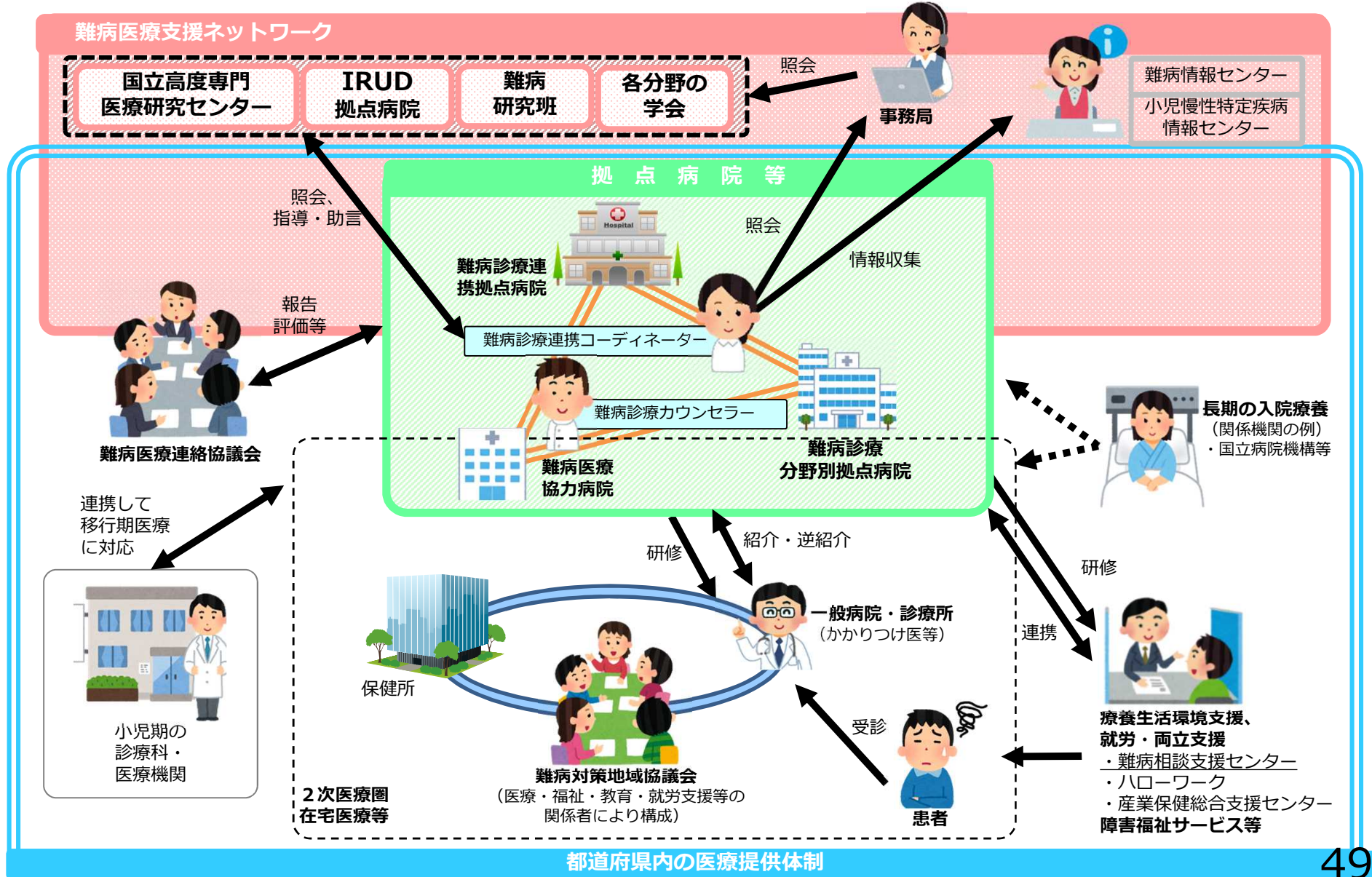
- ⇒ 各自治体の実情に応じた医療提供体制の整備を促進するために、難病診療連携拠点病院及び難病診療分野別拠点病院、難病医療協力病院の在り方について、どのように考えるか。
- ⇒ 福祉制度など、他の制度や施策と連携を進めていくための方策について、どう考えるか。

参考資料

- p123～132 (1) 難病の医療提供体制について

難病の医療提供体制のイメージ（全体像）

- 「できる限り早期に正しい診断が受けられ、診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることができる体制」を整備するため、都道府県が指定する難病診療連携拠点病院や難病診療分野別拠点病院が中心となって、難病医療支援ネットワークと連携しながら、難病患者に対する相談支援や診療連携、入院調整等を行う体制の整備を行うこととしている。



都道府県における医療提供体制の整備状況（1 / 4）

- 令和元年10月1日現在、難病診療連携拠点病院については37都府県（70医療機関）、難病診療分野別拠点病院については18県（45医療機関）において整備されている。

| 自治体名 | 難病診療連携拠点病院 | 難病診療分野別拠点病院 |
|------|--------------------|----------------|
| 青森県 | 青森県立中央病院 | 弘前大学医学部附属病院 |
| 岩手県 | 岩手医科大学附属病院 | — |
| 宮城県 | 東北大学病院 | — |
| 秋田県 | 秋田大学医学部附属病院 | 秋田赤十字病院 |
| | | あきた病院 |
| 茨城県 | 筑波大学附属病院 | — |
| | 茨城県立中央病院 | — |
| 栃木県 | 獨協医科大学病院 | — |
| | 自治医科大学附属病院 | — |
| | 国際医療福祉大学病院 | — |
| 群馬県 | 群馬大学医学部附属病院 | — |
| 埼玉県 | 埼玉医科大学病院 | 東埼玉病院 |
| | 埼玉医科大学総合医療センター | — |
| | 自治医科大学附属さいたま医療センター | — |
| | 獨協医科大学埼玉医療センター | — |
| 千葉県 | 千葉大学医学部附属病院 | 千葉東病院 |
| | | 東邦大学医療センター佐倉病院 |

都道府県における医療提供体制の整備状況（2 / 4）

| 自治体名 | 難病診療連携拠点病院 | 難病診療分野別拠点病院 |
|------|-------------------------|--------------------------|
| 東京都 | 聖路加国際病院 | — |
| | 東京慈恵会医科大学附属病院 | — |
| | 東京女子医科大学病院 | — |
| | 日本医科大学付属病院 | — |
| | 順天堂大学医学部附属順天堂医院 | — |
| | 東京医科歯科大学医学部附属病院 | — |
| | 日本大学医学部附属板橋病院 | — |
| | 帝京大学医学部附属病院 | — |
| | 杏林大学医学部付属病院 | — |
| | 東京都立多摩総合医療センター・東京都立神経病院 | — |
| 神奈川県 | 横浜市立大学附属病院 | — |
| | 聖マリアンナ医科大学病院 | — |
| | 北里大学病院 | — |
| | 東海大学医学部付属病院 | — |
| 新潟県 | 新潟大学医歯学総合病院 | — |
| 富山県 | 富山大学附属病院 | 富山県リハビリテーション病院・こども支援センター |
| | 富山県立中央病院 | |
| 石川県 | 金沢大学附属病院 | 医王病院 |
| | 金沢医科大学病院 | |
| 福井県 | 福井県立病院 | — |
| 岐阜県 | 岐阜大学医学部附属病院 | — |
| 静岡県 | 浜松医科大学医学部附属病院 | — |
| 愛知県 | 愛知医科大学病院 | — |
| 三重県 | 三重大学医学部附属病院 | 三重病院 |
| | | 鈴鹿病院 |

都道府県における医療提供体制の整備状況（3 / 4）

| 自治体名 | 難病診療連携拠点病院 | 難病診療分野別拠点病院 |
|---------|-----------------|----------------|
| 滋賀県 | 滋賀医科大学医学部附属病院 | 市立大津市民病院 |
| | | 大津赤十字病院 |
| | | 滋賀病院 |
| | | 誠光会草津総合病院 |
| | | 滋賀県立小児保健医療センター |
| | | 滋賀県立総合病院 |
| | | 済生会滋賀県病院 |
| | | 公立甲賀病院 |
| | | 紫香楽病院 |
| | | 近江八幡市立総合医療センター |
| | | 東近江総合医療センター |
| | | 湖東記念病院 |
| | | 彦根市立病院 |
| | | 市立長浜病院 |
| 長浜赤十字病院 | | |
| 高島市民病院 | | |
| 大阪府 | 大阪市立大学医学部附属病院 | — |
| | 大阪急性期・総合医療センター | — |
| | 大阪南医療センター | — |
| | 堺市立総合医療センター | — |
| | 大阪赤十字病院 | — |
| | 田附興風会医学研究所 北野病院 | — |
| | 市立東大阪医療センター | — |
| | 近畿大学病院 | — |
| | 市立岸和田市民病院 | — |
| | 大阪大学医学部附属病院 | — |
| | 大阪医科大学附属病院 | — |
| | 関西医科大学附属病院 | — |

都道府県における医療提供体制の整備状況（4 / 4）

| 自治体名 | 難病診療連携拠点病院 | 難病診療分野別拠点病院 |
|------|--------------|---------------|
| 兵庫県 | 兵庫医科大学病院 | — |
| | 兵庫中央病院 | — |
| 奈良県 | 奈良県立医科大学附属病院 | 奈良県総合医療センター |
| | | 市立奈良病院 |
| | | 天理よろづ相談所病院 |
| | | 奈良県西和医療センター |
| | | 近畿大学奈良病院 |
| | | 南奈良総合医療センター |
| | | 健生会土庫病院 |
| 島根県 | 島根大学医学部附属病院 | 島根県立中央病院 |
| | | 松江医療センター |
| 岡山県 | 岡山大学病院 | — |
| 広島県 | 広島大学病院 | 広島西医療センター |
| | | 脳神経センター大田記念病院 |
| 山口県 | 山口大学医学部附属病院 | — |
| 徳島県 | 徳島大学病院 | 徳島病院 |
| 香川県 | 香川大学医学部附属病院 | 高松医療センター |
| 愛媛県 | 愛媛大学医学部附属病院 | 愛媛医療センター |
| 高知県 | 高知大学医学部附属病院 | 高知大学医学部附属病院 |
| 佐賀県 | 佐賀大学医学部附属病院 | — |
| 長崎県 | 長崎大学病院 | — |
| 熊本県 | 熊本大学病院 | 熊本再春医療センター |
| | | 熊本南病院 |
| 大分県 | 大分大学医学部附属病院 | 西別府病院 |
| 宮崎県 | 宮崎大学医学部附属病院 | 宮崎東病院 |
| 沖縄県 | 琉球大学医学部附属病院 | — |
| | 沖縄病院 | — |

(2) 遺伝子診療体制について

合同委員会で示された論点

- 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）については、希少・未診断患者の早期診断に大幅に寄与している実績がある一方で、研究の一環として行われているため、持続可能性の観点からは課題があることから、がん対策におけるゲノム医療提供体制も踏まえ、将来的には研究と医療（臨床応用）を統合し、医療の中で提供できる体制を整備していくことが必要ではないか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 難病のゲノム医療の推進にあたって、将来的な早期診断の実現や遺伝子治療を含む新たな治療法開発につながる医療提供体制はどのようなものか。これを検討するにあたり、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の研究成果をどのように活かしていくか。

参考資料

- p133～141 （2）遺伝子診断体制について

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 難病に関するゲノム医療を強力に推進していく必要があるのではないかと。また、高額な遺伝子診断について、研究ではなく医療の中で対応することを検討することが課題ではないかと。
- ゲノム検査の結果により、患者やその家族が不利益を被ることが無いようにすべき。

難病の医療提供体制（難病診療連携拠点病院等）の法令上の位置付け

○ 難病の医療提供体制については、基本方針において、「できる限り早期に正しい診断ができる体制を構築するとともに、診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることができる体制を確保する」こととされており、遺伝子診断等について、「遺伝子診断等の特殊な検査について、倫理的な観点も踏まえつつ幅広く実施できる体制づくりに努める。」とされている。

○ 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）（抄）
第四条 厚生労働大臣は、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（以下「基本方針」という。）を定めなければならない。

2 基本方針は、次に掲げる事項について定めるものとする。

二 難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項

○ 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9月15日厚生労働省告示第375号）（抄）

第三 難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項

(1) 基本的な考え方について

難病は、発症してから確定診断までに時間を要する場合が多いことから、**できる限り早期に正しい診断ができる体制を構築するとともに、診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることができる体制を確保する。**〈略〉

(2) 今後の取組の方向性について

ア 難病については、できる限り早期に正しい診断ができ、より身近な医療機関で適切な外来、在宅及び入院医療等を受けることのできる体制が肝要である。このため、国は、難病の各疾病や領域ごとの特性に応じて、また、各地域の実情を踏まえた取組が可能となるよう、〈中略〉医療機関や診療科間及び他分野との連携の在り方等について検討を行い、具体的なモデルケースを示す。

イ **国立高度専門医療研究センター、難病の研究班、各分野の学会等が、相互に連携して、全国の大学病院や地域で難病の医療の中心となる医療機関と、より専門的な機能を持つ施設をつなぐ難病医療支援ネットワークの構築に努められるよう、国は、これらの体制の整備について支援を行う。**

カ 国は、難病についてできる限り早期に正しい診断が可能となるよう研究を推進するとともに、**遺伝子診断等の特殊な検査について、倫理的な観点も踏まえつつ幅広く実施できる体制づくりに努める。**

難病の医療提供体制（難病診療連携拠点病院等）に関する運用通知

○ 難病の医療提供体制の運用については、運用通知により、その具体的な事項を都道府県に対し示している。

○ **平成29年4月14日付け健難発0414第3号の別紙「難病の医療提供体制構築に係る手引き」（概要）**

【難病医療の目指すべき方向性】

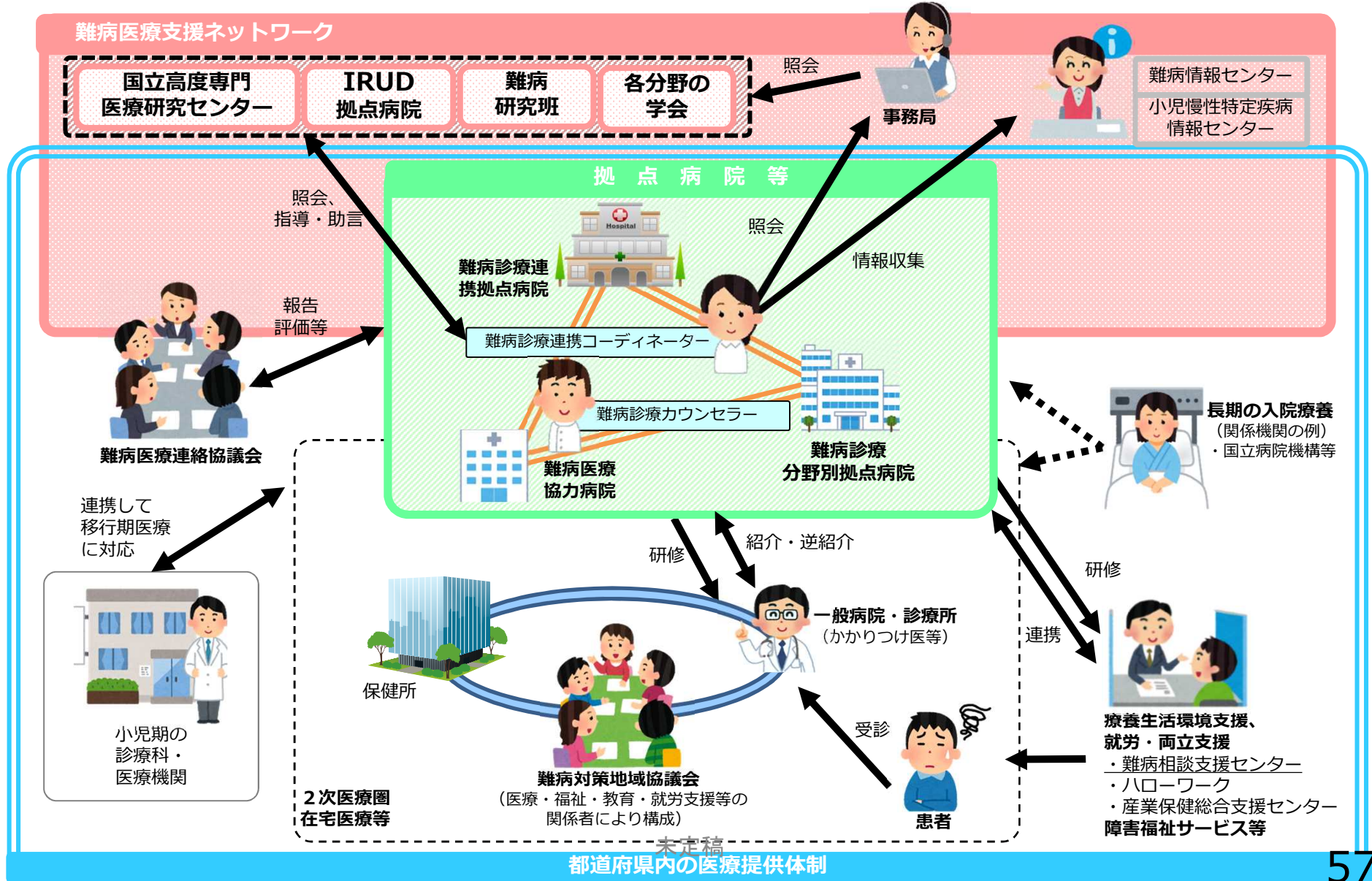
- ・ 早期に正しい診断ができる医療提供体制とするために、診断がついていない患者が受診できる各都道府県の拠点となる医療機関を整備
- ・ 適切な疾病の管理を継続すれば日常生活等が可能な難病について、身近な医療機関で治療を継続するため、医療機関間の連携や関係者への難病についての教育等が必要
- ・ 遺伝子関連検査について、本人及び血縁者に与える影響等について、患者が理解して自己決定できるためのカウンセリング体制の充実・強化
- ・ 小児慢性特定疾病児童等に対して、成人後も必要な医療等を切れ目なく提供するため、小児期及び成人期それぞれの医療従事者間の連携体制の充実

【難病の医療提供体制における各医療機能】

- ・ より早期に正しい診断をする機能（難病診療連携拠点病院）
⇒原則、都道府県に1か所、指定する。
- ・ 専門領域の診断と治療を提供する機能（難病診療分野別拠点病院）
- ・ 身近な医療機関で医療の提供と支援する機能（難病医療協力病院）
- ・ 身近な医療機関で医療を提供する機能（一般病院、診療所）
- ・ 小児慢性特定疾病児童等の移行期医療に係る機能（移行期医療に係る医療機関）

難病の医療提供体制のイメージ（全体像）

- 「できる限り早期に正しい診断が受けられ、診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることができる体制」を整備するため、都道府県が指定する難病診療連携拠点病院や難病診療分野別拠点病院が中心となって、難病医療支援ネットワークと連携しながら、難病患者に対する相談支援や診療連携、入院調整等を行う体制の整備を行うこととしている。



保険収載されている遺伝学的検査

- 令和元年9月現在、指定難病のうち60疾病についてはその診断のための遺伝学的検査が保険収載されており、難病の診療において利用されている。

保険収載されている遺伝学的検査

ア PCR法、DNAシーケンス法、FISH法又はサザンブロット法による場合に算定できるもの

- ① デュシェンヌ型筋ジストロフィー、ベッカー型筋ジストロフィー及び家族性アミロイドーシス
- ② 福山型先天性筋ジストロフィー及び脊髄性筋萎縮症
- ③ 栄養障害型表皮水疱症及び先天性QT延長症候群

イ PCR法による場合に算定できるもの

- ① 球脊髄性筋萎縮症
- ② ハンチントン病、網膜芽細胞腫及び甲状腺髄様癌

ウ ア、イ及びエ以外のもの

- ① 筋強直性ジストロフィー及び先天性難聴
- ② フェニルケトン尿症、ホモシスチン尿症、シトルリン血症（1型）、アルギノコハク酸血症、イソ吉草酸血症、HMG血症、複合カルボキシラーゼ欠損症、グルタル酸血症1型、MCAD欠損症、VLCAD欠損症、CPT1欠損症、隆起性皮膚線維肉腫及び先天性銅代謝異常症
- ③ メーブルシロップ尿症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症、メチルクロトニルグリシン尿症、MTP（LCHAD）欠損症、色素性乾皮症及びロイスディーツ症候群及び家族性大動脈瘤・解離

エ 別に厚生労働大臣が定める施設基準に適合しているものとして地方厚生（支）局長に届け出た保険医療機関において検査が行われる場合に算定できるもの

- ① ライソゾーム病（ムコ多糖症Ⅰ型、ムコ多糖症Ⅱ型、ゴーシェ病、ファブリ病及びポンベ病を含む。）及び脆弱X症候群
- ② プリオン病、クリオピリン関連周期熱症候群、神経フェリチン症、先天性大脳白質形成不全症（中枢神経白質形成異常症を含む。）、環状20番染色体症候群、PCDH19関連症候群、低ホスファターゼ症、ウィリアムズ症候群、アペール症候群、ロスムンド・トムソン症候群、プラダー・ウィリ症候群、1p36欠失症候群、4p欠失症候群、5p欠失症候群、第14番染色体父親性ダイソミー症候群、アンジェルマン症候群、スミス・マギニス症候群、22q11.2欠失症候群、エマヌエル症候群、脆弱X症候群関連疾患、ウォルフラム症候群、高IgD症候群、化膿性無菌性関節炎・壊疽性膿皮症・アクネ症候群及び先天異常症候群
- ③ 神経有棘赤血球症、先天性筋無力症候群、原発性免疫不全症候群、ペリー症候群、クルーゾン症候群、ファイファー症候群、アントレー・ビクスラー症候群、タンジール病、先天性赤血球形成異常性貧血、若年発症型両側性感音難聴、尿素サイクル異常症、マルファン症候群、エーラスダンロス症候群（血管型）、遺伝性自己炎症疾患及びエプスタイン症候群

未診断疾患イニシアチブ（IRUD）について

- 遺伝子異常に関連する難病のうち、一部の単一遺伝子疾患については、難病診療連携拠点病院等における通常の診療の中でも、遺伝学的検査を受けられるようになってきている。一方で、症状が非典型である難病や今まで見つかっていなかった疾病については、通常の診療では診断が困難な場合がある。
- そのため、難治性疾患実用化研究事業研究事業では、特に遺伝子異常を伴う未診断状態の患者に対して、専門家による検討に加え、必要に応じ研究的に遺伝学的解析を実施している。

IRUD（Initiative Rare and Undiagnosed Disease）とは

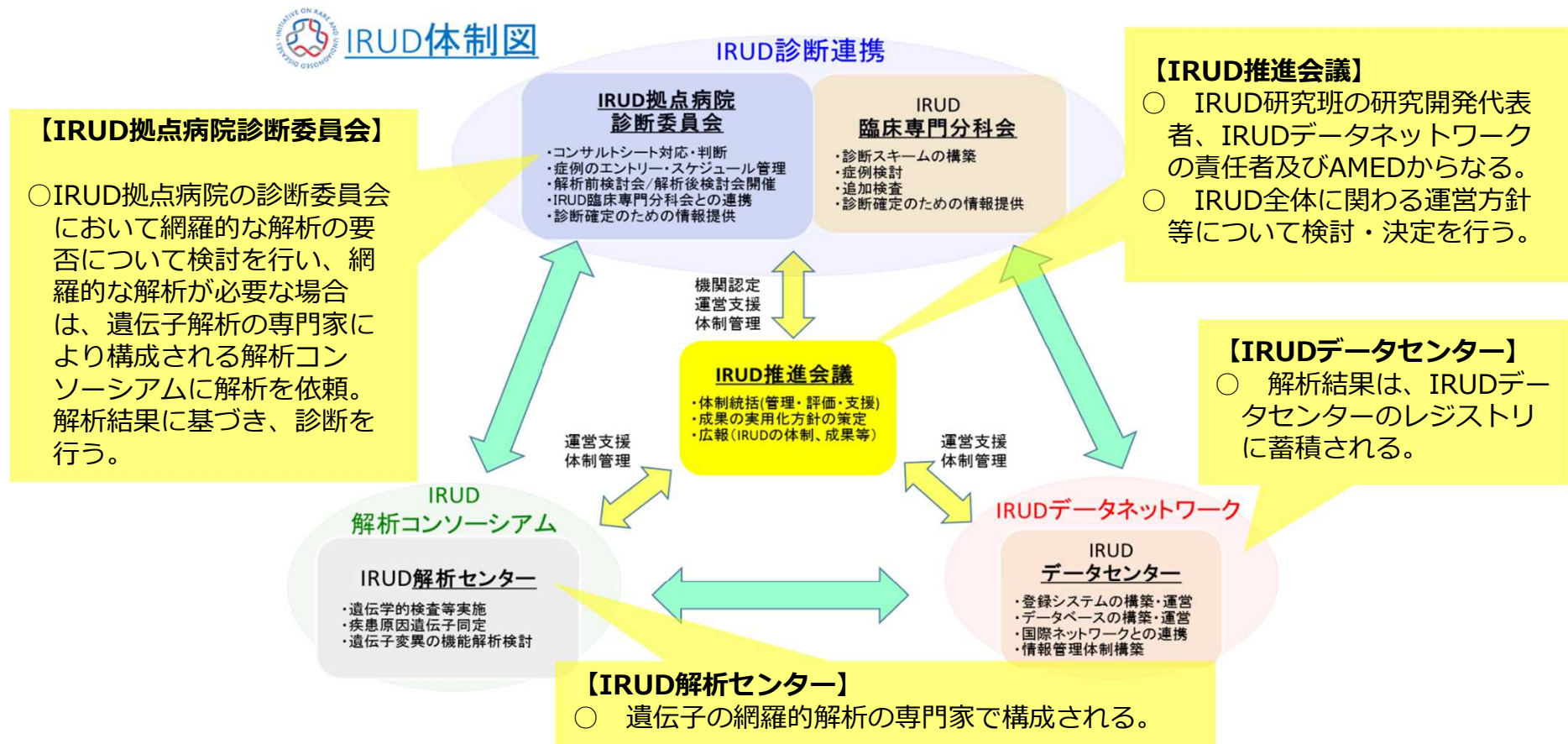
IRUDとは、専門家による検討に加え、必要に応じ研究的に遺伝学的解析を行い診断するために必要な体制の構築等を行う研究事業。

研究の概要

- 研究名：「未診断疾患イニシアチブ(Initiative on Rare and Undiagnosed Disease(IRUD))：希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究」
- 研究代表者：水澤英洋（国立精神・神経医療研究センター）
- 「日本医療研究開発機構 難治性疾患実用化研究事業」によりH27年度から実施。現在2期目（H30～H32年度）
- 研究目的
 - ・ 未診断疾患の診断のための全国的な体制構築
 - ・ 国際連携可能なデータベースの構築ならびに積極的なデータシェアリング
 - ・ 希少・未診断疾患の研究開発促進

IRUDの体制図

○IRUDの体制は、IRUD推進会議（IRUD全体の運営方針の決定・統括）が中心となって、IRUD拠点病院診断委員会（解析の要否の検討、解析結果に基づく診断）、IRUD解析センター（遺伝学的検査の実施等）等が連携して実施している。



(資料出所) 国立精神・神経医療研究センター 水澤英洋研究代表「厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患実用化研究事業 未診断疾患イニシアチブ(Initiative on Rare and Undiagnosed Disease(IRUD)) : 希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究」班会議資料「IRUD体制図」より作成

3. 調査及び研究について

(1) 研究事業について

合同委員会で示された論点

- 難治性疾患政策研究事業と難治性疾患実用化研究事業について、現行の各事業の役割分担が適切かどうかについて、各事業における研究の実施状況や連携状況も踏まえつつ、検証することとしてはどうか。
- 難病研究においては病態解明が重要であることから、すべての指定難病について病態解明に資する研究が進むよう、現在の難治性疾患実用化研究事業の研究採択の仕組みや実状、難治性疾患政策研究事業との連携の在り方も考慮しつつ、どのような対応が可能か、検討することとしてはどうか。
- 各研究班における研究の成果について、患者目線に立った分かりやすい公表・情報提供の在り方を検討することとしてはどうか。

検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 難治性疾患政策研究事業と難治性疾患実用化研究事業の役割分担や、病態解明研究の在り方について、現在の各事業における研究の実施状況や連携状況をどのように考えるか。
- ⇒ 患者に対し研究成果を効果的に伝えるための具体的な方策について、どのように考えるか。

参考資料

○p157～164 (1) 研究事業について

(1) 研究事業について

これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 難治性疾患政策研究事業と難治性疾患実用化研究事業の役割分担は近年比較的機能してきており、実用的な研究が出てきているところ、引き続きこの役割分担に基づき調査研究を押し進めていってはどうか。
- データを提供した患者に対し、提供されたデータによってどのような研究成果が上がったのかを患者に対しフィードバックする仕組みがあるといいのではないか。
- 児童福祉法の参議院の附帯決議の第6項に、「既に薬事承認、保険収載されている医薬品については、治験による有効性、安全性等の確認に基づき、その効能・効果の追加を積極的に検討すること」とされているところ、こういった取組を小児の薬に対して進めていただきたい。また、小児医薬品の開発を義務化しているような仕組みを持っている外国もあると聞いて、そういったことも踏まえて検討していただきたい。

難治性疾患研究事業について

- 難病に関する調査研究は、①病態解明等を行う「難治性疾患政策研究事業」と②創薬等の治療方法の開発・実用化を目指す「難治性疾患実用化研究事業」において実施されており、両研究事業が連携しながら調査研究を進めている。

| | 難治性疾患 政策 研究事業 | 難治性疾患 実用化 研究事業 |
|--------------|--|---|
| 実施主体 | 厚生労働省 | 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED) |
| 令和元年度 予算額 | 1,777百万円 | 8,150百万円 |
| 対象疾患 | 「難病の患者に対する医療等に関する法律」に定義されている難病及び小児慢性特定疾病（他の研究事業において組織的な研究の対象となっている疾病は除く）。 | |
| 目的 | 全ての患者が受ける医療水準の向上、また、QOL 向上に貢献することを目的としている。 | 病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指している。 |
| 研究内容 | <ul style="list-style-type: none"> ○診療体制の構築、疫学研究、普及啓発 ○診断基準・診療ガイドラインの作成・改訂 ○小児成人期移行医療（トランジション）推進 ○関連研究やデータベース等との連携 <p style="text-align: right;">等</p> | <ul style="list-style-type: none"> ○病態解明 ○オミックス解析 ○未診断疾患イニシアチブ（IRUD） ○新規治療薬・医療機器等の開発 ○医師主導治験 <p style="text-align: right;">等</p> |



難治性疾患政策研究事業の全体像

- 難治性疾患政策研究事業では、指定難病の331疾病だけでなく、指定難病以外の難病（広義の難病）や小児慢性特定疾病についても広く対象として、研究を推進している。

指定型研究

行政施策の推進のため、当該研究課題を実施する者を指定し、課題を解決するための研究を行う。

公募型研究

- 「疾患別基盤研究分野」**：客観的な指標に基づく疾病概念の確立していない難病について、調査・研究し、診断基準・重症度分類を確立する。
- 「領域別基盤研究分野」**：疾病概念が確立されている疾病で、一定の疾病領域内の複数の類縁疾病なども全て網羅し、疾病対策を行う。
- 「横断的政策研究分野」**：種々の分野にまたがる疾患群や、疾病によらず難病等の患者を広く対象とした研究を行う。

主な研究

「データベースの整備」

「小児慢性特定疾病対策の推進に寄与する実践的基盤提供にむけた研究」

- ・ データベース登録システムの整理・見直し等を行い、利活用の促進につながるようなデータベースの構築を目指す。

「難病診療体制の維持」

「HAMならびに類縁疾患の患者レジストリを介した診療連携モデルの構築によるガイドラインの活用促進と医療水準の均てん化に関する研究」

- ・ 指定難病及びその類縁疾患の研究を行い、疫学研究、普及啓発、診断基準・診療ガイドライン等の作成・改訂を行う。

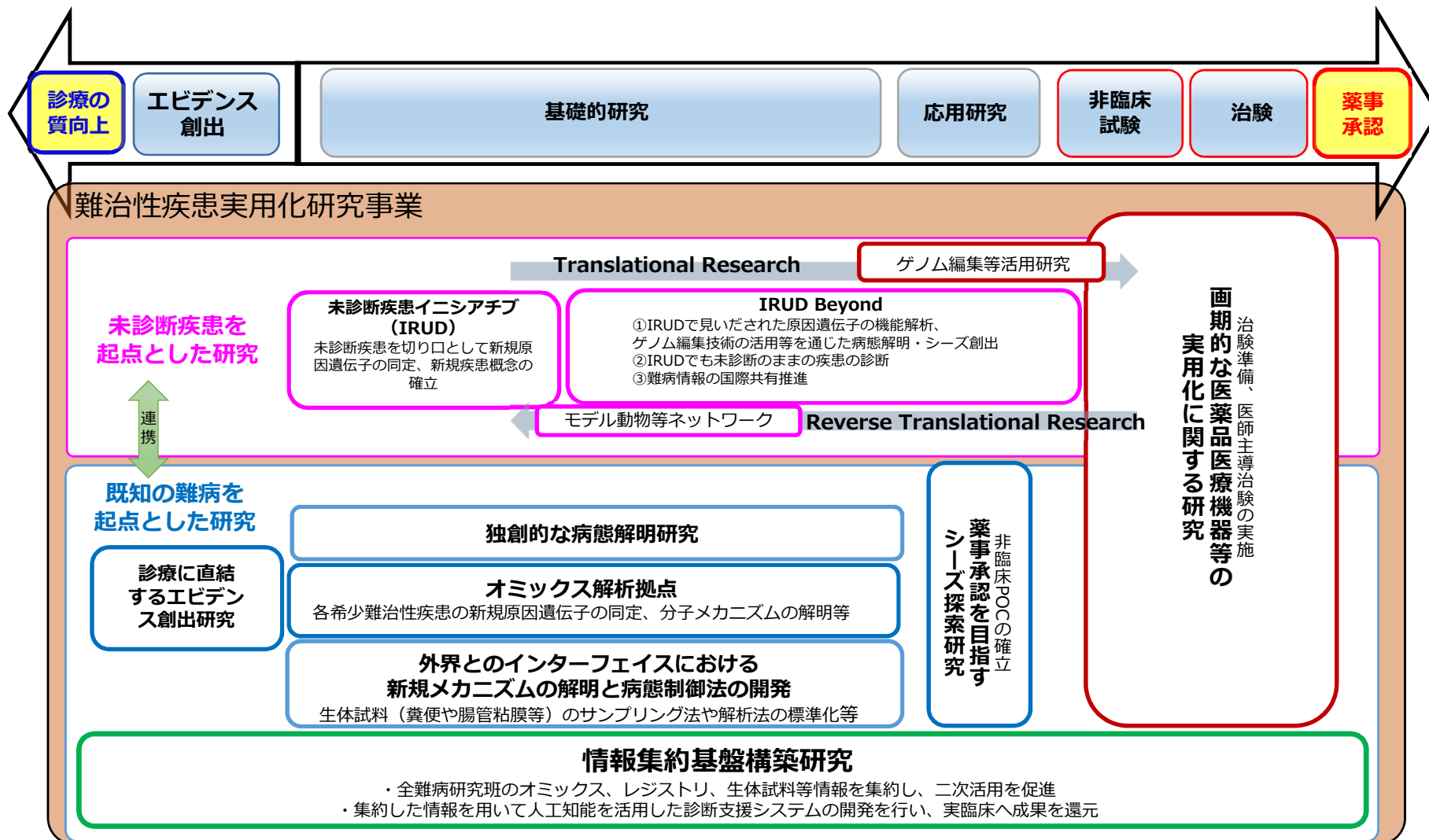
「検査体制の整備」

「難病領域における検体検査の精度管理体制の整備に資する研究」

- ・ 保険収載されていない検査の実態を把握し、難病患者の診療に必要な検査について保険収載を検討する。検査を集約化することで検査の質の担保、検査費用の軽減につなげることができるか検討する。

難治性疾患実用化研究事業の全体像

- 難治性疾患実用化研究事業では、①診断がつかない疾患（未診断疾患）に関する研究と②既知の難病に関する研究がある。①については、薬事承認を目指す研究が行われており、②については、薬事承認に加え、診療の質の向上を目指す研究が行われている。



難治性疾患政策研究事業・実用化研究事業における成果

- 難病法施行後から現在までに、322疾病の診療ガイドラインの作成、16件の疾患概念の新規確立及び原因遺伝子の新規発見等、一定程度成果が上がっている。

| 研究成果の概要 | |
|--|--|
| <p>①医療水準の向上のための研究（難治性疾患政策研究事業）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ e-ラーニング用の小児慢性特定疾病指定医研修教材開発（29年度） ・ 指定難病を中心とした322疾病の診療ガイドライン作成（30年度） ・ 成人移行支援コアガイドの原案作成（30年度） ・ 臨床調査個人票作成の現状と今後のデータ登録の在り方に関する意向調査（30年度） <p>等を行い難病の医療水準の向上に貢献している。</p> | <p>③新規薬剤等の申請、既存薬剤の適応拡大に至った研究開発：（30年度末までに）累積6件（難治性疾患実用化研究事業）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ リンパ脈管筋腫症に対するラパマイシン、痙攣性発声障害に対するチタンブリッジ、ミトコンドリア病 MELASに対するタウリンといった新規治療法や炎症性腸疾患に対するロイシンリッチα2グリコプロテイン（LRG）といった新規診断法の開発を行い、難病の治療・診断に貢献している。 |
| <p>②欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始：（30年度末までに）累積1件（難治性疾患実用化研究事業）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ HTLV-1関連脊髄症（HAM）に対するステロイド製剤の研究において、ステロイド製剤の国際共同治験では、治験届を提出し（2016年7月27日）、患者の登録を開始して29例で同意を取得し、20例で投与を開始する等、順調に進行しており、国際的な取り組みを行っている。 | <p>④疾患概念の新規確立及び原因遺伝子の新規発見件数：（30年度末までに）累積16件（難治性疾患実用化研究事業）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）等の研究を通じて、武内-小崎症候群（CDC42遺伝子の異常）、小崎Overgrowth症候群（PDGFRB遺伝子の異常）といった新規疾患や既知の疾患であるWest症候群に関連する新規遺伝子（WDR45遺伝子）を発見し難病の病態解明に貢献している。 |

(2) データベースについて

合同委員会で示された論点

- 難病医療費助成制度の特徴は、患者の経済的負担を軽減する福祉的目的のみならず、患者データの効率的な収集による治療研究の推進という目的を併せ持つことであり、それを踏まえると、データベースの整備が重要であり、患者のデータ提供を促進させるための仕組みを検討することとしてはどうか。
- 医療費助成の対象とならない軽症者についても、データの収集により、実態の把握が可能となるよう、軽症者のデータ登録が促進される仕組みについて、検討することとしてはどうか。
- 治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、指定難病・小児慢性特定疾病データベースと他の医療保険分野の公的データベースを連結させる仕組みについて、個人情報にも十分に配慮しつつ、検討することとしてはどうか。
- 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効果的かつ効率的な連結解析が可能となるよう、登録項目の統一化を検討することとしてはどうか。
- 各研究班で保有している患者レジストリ等のデータについて、研究終了後も他の研究等で継続して活用されるよう、データセンターの設置など、保管場所の集約化を検討することとしてはどうか。
- 悉皆性のあるデータベースを構築する観点から、指定難病患者データベースや小児慢性特定疾病児童等データベースのみならず、研究班が保有する患者レジストリ等のデータも含めて、データベースの全体像や役割分担について、検討することとしてはどうか。
- データベースの精度を確保するとともに、自治体や指定医の負担軽減を図る観点から、自治体から紙で送付される臨床調査個人票等の内容をデータ登録センターで入力する現行の仕組みを見直し、指定医が患者データをオンライン上で直接登録できる仕組みの整備について、検討することとしてはどうか。また、オンライン化の仕組みの整備に当たっては、医療情報をオンライン上で扱う際の安全性の確保、登録された情報が指定医により作成されたものであることを担保するための仕組みの構築が必要ではないか。
併せて、指定医の負担も考慮しつつ、臨床調査個人票の項目の見直しについても、データベースの在り方と一体的に検討することが必要ではないか。
- データベースの治療研究への重要性・有用性について患者の理解を深め、データ登録率を向上させるために、患者からデータ提供の同意を得る際の説明方法等の見直しについて、検討することとしてはどうか。特に、ゲノムに関連する情報など特段の配慮を要する情報の取扱いについては、患者本人や家族にとって重大な問題であることから、患者又はその家族への十分な説明を行った上で、同意を得ることが必要ではないか。

(2) データベースについて

検討にあたっての事実関係等

<データベースの構築について>

- ⇒ 難病医療費助成制度の特徴である、患者のデータの効率的な収集による調査研究の推進という目的の観点から、効率的なデータベースの構築に向けた方策をどのように考えるか。
- ⇒ データベースの調査研究への重要性・有用性について患者の理解を深め、データ登録に同意していただけるよう、同意取得時の説明の在り方について、具体的にどのように考えるか。
- ⇒ 指定医が患者データをオンライン上で直接登録できる仕組みの整備について、安全性の確保、指定医の負担、登録された情報が指定医により作成されたものであることを担保するための仕組みをどのように考えるか。
- ⇒ 医療費助成の対象とならない軽症者登録の仕組みを実現するに当たり、データ登録の仕組みを具体的にどのように考えるか。

<データベースの連結・役割分担について>

- ⇒ 指定難病・小児慢性特定疾病データベースと他の医療保険分野の公的データベースを連結させる仕組みについて、他の公的データベースにおける議論や整備状況等を踏まえ、具体的にどのように考えるか。またその際の個人情報保護のための方策について、どのように考えるか。
- ⇒ 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登録項目の共通化について、両者の取得項目の違いや重症度基準の違いをどのように考えるか。
- ⇒ 難病や小児慢性特定疾病に関する様々なデータベースの全体像や役割分担について、具体的にどのように考えるか。

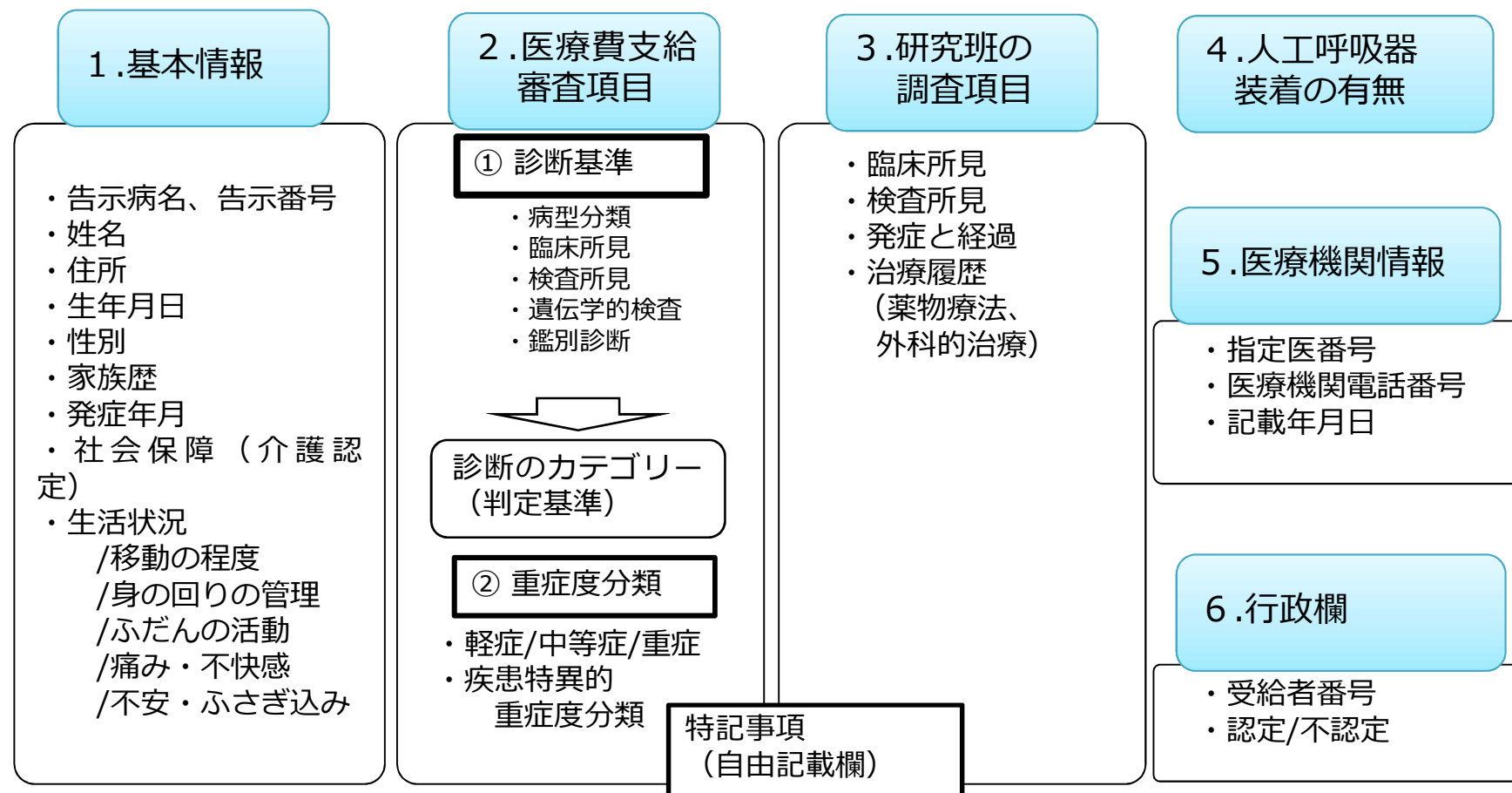
(2) データベースについて

これまでのWGにおける主な御意見

- NDB等他の公的DBとの連結解析データなど治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、NDBや介護DB同様に、難病・小慢DBを法定化し、提供のルール等を明確に定めることが必要。
- 難病の特徴である希少性を踏まえた上での条文化が必要。
- AMEDの研究事業である難病プラットフォームの活用により、研究終了後も他の研究等で継続して活用していくべき。
- 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は、悉皆性を向上させ、基礎的な項目を収集することが必要。その上で、生体情報等も網羅された研究班のレジストリとの連携が重要。
- 難病に関するデータは遺伝情報も含まれておりとても機微な内容であるため、その登録及び提供に当たっては、引き続き患者からの同意を前提とすることが必要。その上で、同意のよりよい取得方法について検討が必要ではないか。
- 治療法の開発のために医療費助成を実施することでデータ収集を促進するのが難病法の医療費助成の趣旨であり、助成を受ける以上データの提供には同意いただきたいところではあるが、難病の希少性や、他のデータベースとの連結することに伴う患者の不安なども考慮すると、まずはデータベースについて法整備を行った上で、患者がデータ登録に同意していただけるような仕組みとすることが必要ではないか。

(参考) 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。



(資料出所) 平成30年10月10日第2回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資料
2-1「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」より厚生労働省作成

(参考) 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礎的な情報のほか、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
- ・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

- 診断の根拠となつ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

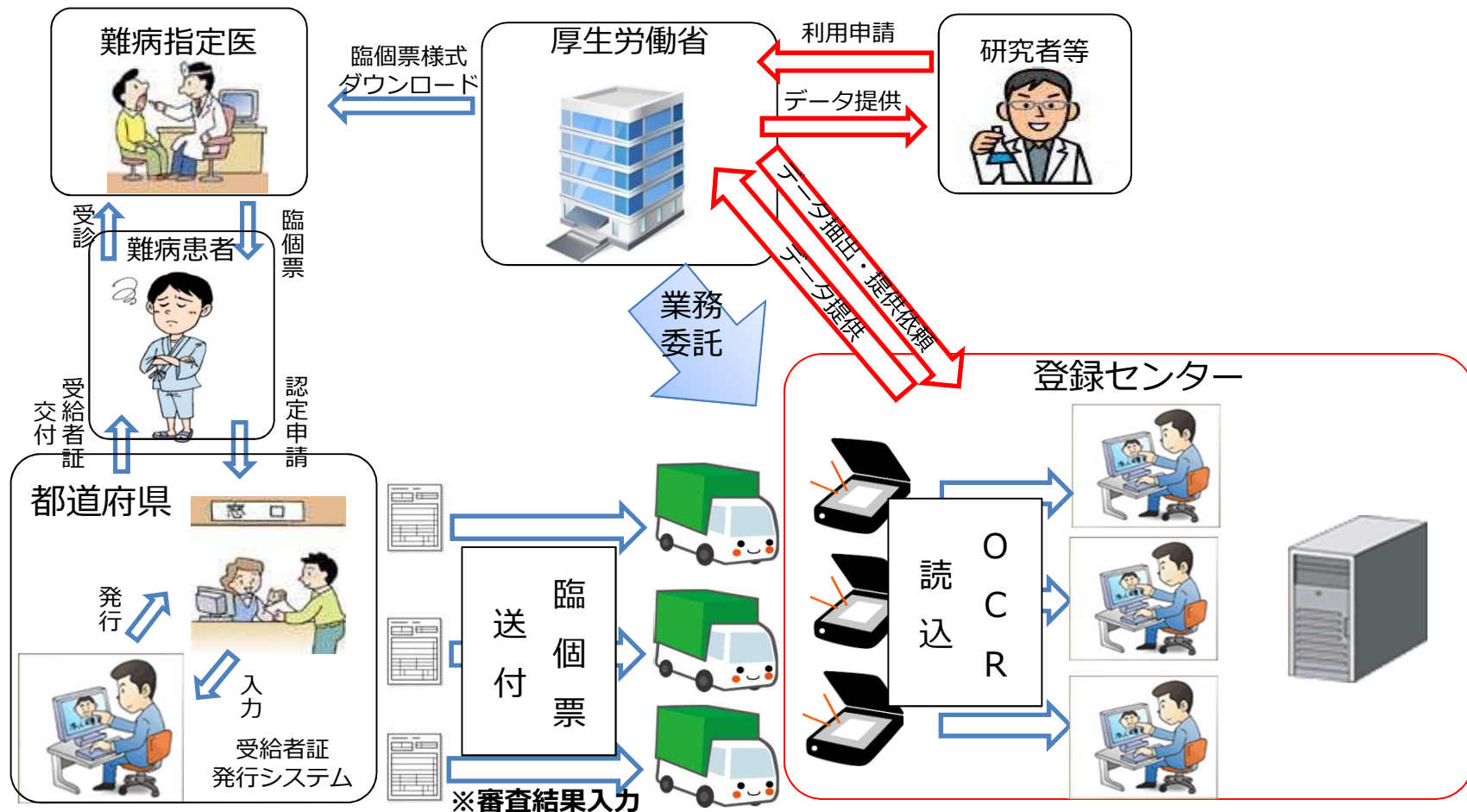
7. 医療機関情報

- ・指定医番号
- ・医師名
- ・医療機関名
- ・記載年月日

(※) 疾患により医療意見書内の記載箇所が異なる

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。



中長期的課題と現在の状況

- 合同委員会（※）の取りまとめにおける中長期的課題については、システムや仕組みの未整備等により、現状ではほとんどが対応できていない。

※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

| 中長期的課題 | 現在の状況 |
|--|---|
| 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統一化 | × 現行の指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病等データベースは、別々のシステムで構築されており、統一化されていない。 |
| 各種データベースの連結 | × <u>他のデータベースと連結するためのルールやシステムが整備されていない。</u> |
| 地方自治体の事務負担軽減 ・オンラインシステム ・支給認定の一次判定機能 | × <u>オンライン上の登録や支給認定の一次判定機能を可能とするためのシステムが整備されていない。</u> |
| 軽症者の登録率向上 | × <u>医療費助成の申請時に研究利用に関する同意を取得する仕組みとなっており、医療費助成の対象とならない軽症者の登録が進んでいない。</u> |
| データの質・信頼性の担保 | × 入力機関において確認を行っているものの、OCRで読取りを行った際、読み取れない場合や誤った読み取りが生じる可能性がある。 |
| 同意の在り方についての検討 | ○ 難病・小慢それぞれの同意書に関し、「利用範囲・提供先」「任意性の担保」「臨床研究時の再同意取得」「経年データ」「研究結果の公表」「同意の撤回」について記載事項の統一化を図った（令和2年3月末日までに順次実施）。 |

（資料出所） 「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」（平成30年6月20日 第56回厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・第30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）より作成

(参考) 保健医療分野の主な公的データベースの状況

- 近年、保健医療分野においては、それぞれの趣旨・目的に即したDBが整備されている。NDB（※1）、介護DB（※2）、DPCデータベース（※3）については、他のデータベースとの連結解析や相当の公益性を有する研究等を行う者へのデータの提供等に関する規定を整備するための改正法案が本年度通常国会において可決・成立。

※1：レセプト情報・特定健診等情報データベース

※2：介護保険総合データベース

※3：特定の医療機関への入院患者に係る入院期間のレセプト情報や病態等に係る情報のデータベース

| 名称 | NDB | 介護DB | DPCデータベース | 全国がん登録DB | 難病DB | 小慢DB | MID-NET |
|----------|---------------------|-------------------|------------------|-------------------|----------------|----------------|-------------------|
| 元データ | レセプト、特定健診 | 介護レセプト、要介護認定情報 | DPCデータ | 届出対象情報、死亡者情報票 | 臨床個人調査票 | 医療意見書情報 | 電子カルテ、レセプト等 |
| 主な情報項目 | 傷病名(レセプト病名)、投薬、健診結果 | 介護サービスの種類、要介護認定区分 | ・病態等の情報 ・施設情報 | がんの罹患、診療、転帰 | 告示病名、生活状況、診断基準 | 疾患名、発症年齢、各種検査値 | ・処方・注射情報 ・検査情報 |
| 保有主体 | 国 (厚労大臣) | 国 (厚労大臣) | 国 (厚労大臣) | 国 (厚労大臣) | 国 (厚労大臣) | 国 (厚労大臣) | PMDA・協力医療機関 |
| 匿名性 | 匿名 | 匿名 | 匿名 | 顕名 | 顕名(※5) | 顕名(※5) | 匿名 |
| 第三者提供の有無 | 有 (平成23年度～) | 有 (平成30年度～) | 有 (平成29年度～) | 有 (平成30年度～) | 有 (令和元年度～) | 有 (令和元年度～) | 有 (平成30年度～) |
| 根拠法 | 高確法16条 | 介護保険法118条の2 | — (告示※4) | がん登録推進法第5、6、8、11条 | — | — | PMDA法第15条 |

※4：本年度の通常国会で成立した健康保険法の一部を改正する法律案において法律上の根拠規定を設ける内容が盛り込まれている。

※5：取得時に本人同意を得ている

(資料出所) 第111回社会保障審議会医療保険部会 資料2「レセプト情報・特定健診等情報データベース、介護保険総合データベース等の解析基盤の検討の進め方について(報告)」(平成30年4月19日)より作成

(参考) 保健医療分野の主な公的データベースにおけるデータの提供先

- 保健医療分野の他の公的データベースについては、データの提供先として、条件付で民間の研究機関等にも提供するなど幅広く提供を認めている。
- 他方、難病DB及び小慢DBについては、厚労省、厚労省・文科省が補助を行う研究事業を実施する者及び自治体に限定している。

| DBの名称 | 根拠規定 | 提供先に関する規定 |
|-----------|--|--|
| NDB | 高齢者の医療の確保に関する法律 | 以下に掲げる者が、それぞれ以下に掲げる調査・研究を行う場合にのみ提供を認めている。 ①国の他の行政機関及び地方公共団体 ⇒適正な保健医療サービスの提供に資する施策の企画及び立案に関する調査 |
| DPCデータベース | 健康保険法 | ②大学その他の研究機関 ⇒疾病の原因並びに疾病の予防、診断及び治療の方法に関する研究その他の公衆衛生の向上及び増進に関する研究 ③民間事業者その他の厚生労働省令で定める者 ⇒医療分野の研究開発に資する分析その他の業務（特定の商品又は役務の広告又は宣伝に利用するために行うものを除く。） |
| 介護DB | 介護保険法 | 提供先はNDB・DPCデータベースと同様（提供先における利用目的が、介護分野に関する研究や介護保険事業に関する調査等の場合にのみ提供を認めている。） |
| 全国がん登録DB | がん登録等の推進に関する法律 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 行政機関、都道府県、市町村、独立行政法人 ・ 上記と共同で研究を行う者及び上記から委託を受けた者等 ・ がん医療の質の向上等に資する調査研究を行う者 |
| 難病DB | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 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、中核市（※中核市は小児慢性特定疾病のみ） ・ 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 |
| 小慢DB | | |
| MID-NET | MID-NETの利活用に関するガイドライン | <ul style="list-style-type: none"> ・ 利活用者について、第161に規定された契約違反の結果、利活用の禁止対象となっていないこと。なお、利活用者として十分な責任を果たすことができる者であること。また、MID-NET利活用者は機構が実施する研修又は機構が認める研修を受講していること。 |