

## 今後の指定難病の検討の在り方について

平成31年3月20日  
指定難病検討委員会

○ 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。

### (1) 指定難病の追加の検討に関して

- ① 検討対象とする疾病について、当該疾病の診断基準及び重症度分類について関係学会の承認を得ている疾病のみを検討の対象とすること。
- ② 過去に本委員会で指定難病の要件を満たしていないと判断された疾病について、研究班からの申出に基づき、本委員会で再度検討を行う際には、当該研究班に対し、過去に満たしていないとされた要件に対する新たな知見の追加の有無等について報告を求めるとし、当該報告を事務局で整理した上、本委員会で再度検討することとする。

### (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とすること。
- 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。