

難病・小慢対策の見直しに関する意見書（令和3年7月）
を踏まえた見直し（案）について

令和4年7月

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。

○ 小児慢性特定疾病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。

円滑に医療費助成が受けられる仕組みについて

基本的な考え方

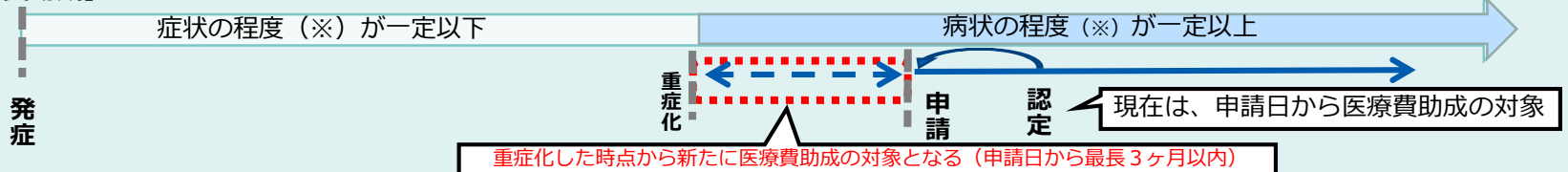
- **医療費助成の開始のタイミング**は、現在の申請日から前倒して、**重症化時点**（認定基準を満たすことについて指定医が診断した日）からとする。
- **前倒しの対象**は、軽症高額該当者も含め、**医療費助成の対象となる全ての患者**とする。
- **前倒しの期間**は、**一定の上限を設けることとし、以下の点を考慮して上限を設定する。**
 - ・約99%の医師が概ね1か月で臨床調査個人票及び医療意見書（以下「臨個票等」という。）の作成を完了していること
 - ・患者の病状によっては、臨個票等の作成完了後、直ちに申請することが困難な場合があり得ること
 - ・自治体の事務負担（前倒し分の償還払いに係る事務の発生等）
- その他、円滑に施行できるよう、**十分な周知期間**を設ける。

論点と見直し（案）

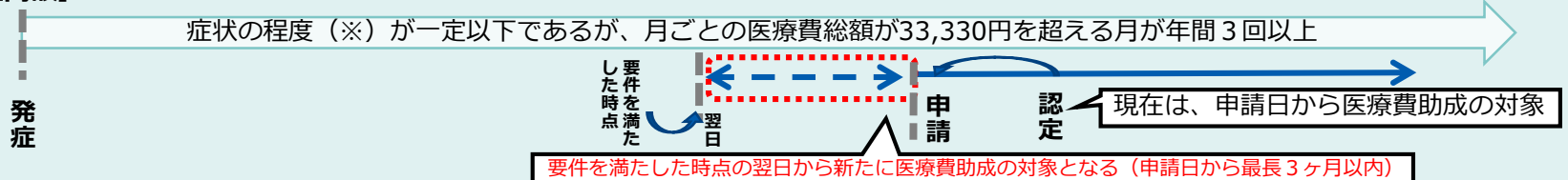
論点	見直し（案）
前倒し期間の上限	<ul style="list-style-type: none"> ・原則1か月。 ・ただし、「重症度分類を満たしていることを診断した日」から、申請のあった日まで継続して申請することが困難であった（※）場合は、最大3か月としてはどうか。 ※入院その他緊急の治療が必要であった場合等の理由により、医療機関から臨個票等を交付されてからすぐに申請できなかった場合など。
軽症高額対象者（難病）	軽症高額の基準を満たした日の翌日以降 にかかった医療費を助成対象としてはどうか。（前倒しの期間の上限は上記と同様）

医療費助成の見直しのイメージ

【医療費助成】



【軽症高額】



※重症化時点の確認は、原則、臨個票等の記載年月日により判断することとする。また、臨個票等の様式を改正し、「重症度分類を満たしていることを診断した日」の欄を設け、臨個票等の記載年月日と別に「重症度分類を満たしていることを診断した日」がある場合は、医師がこれを記載することとする。（添付書類は不要）

医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入 及び「登録者証」（仮称）の発行について①

基本的な考え方

医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入

- 医療費助成の申請をしない者もデータ登録できる仕組みとする。
- **登録項目**は、将来的に医療費助成を申請する可能性を考慮し、**データの経年比較等の観点**から、**医療費助成を受ける患者と同様**とする。
- **登録頻度**は、**患者の経済的負担**（データ登録に当たり診断書を取得することが必要）及び治療困難な疾病であることを考慮して設定する。
- **小児慢性特定疾病のデータ登録**については、**すでに軽症者のデータが一定程度収集されていること**や**自治体の事務負担**を考慮し、当面は医療費助成を受けている者のみ対象とする。

「登録者証」（仮称）の発行

- **目的**は、①**治療研究の推進**及び②**地域における各種支援を円滑に利用できるようにする**という療養生活の環境整備等とする。
- **登録対象**は、
 - ・ **難病**：①**医療費助成を受けている者**、②**重症度分類に関して医療費助成の不支給決定を受けた者**、③**軽症のため医療費助成の申請に至らない者**
 - ・ **小慢**：①**医療費助成を受けている者**

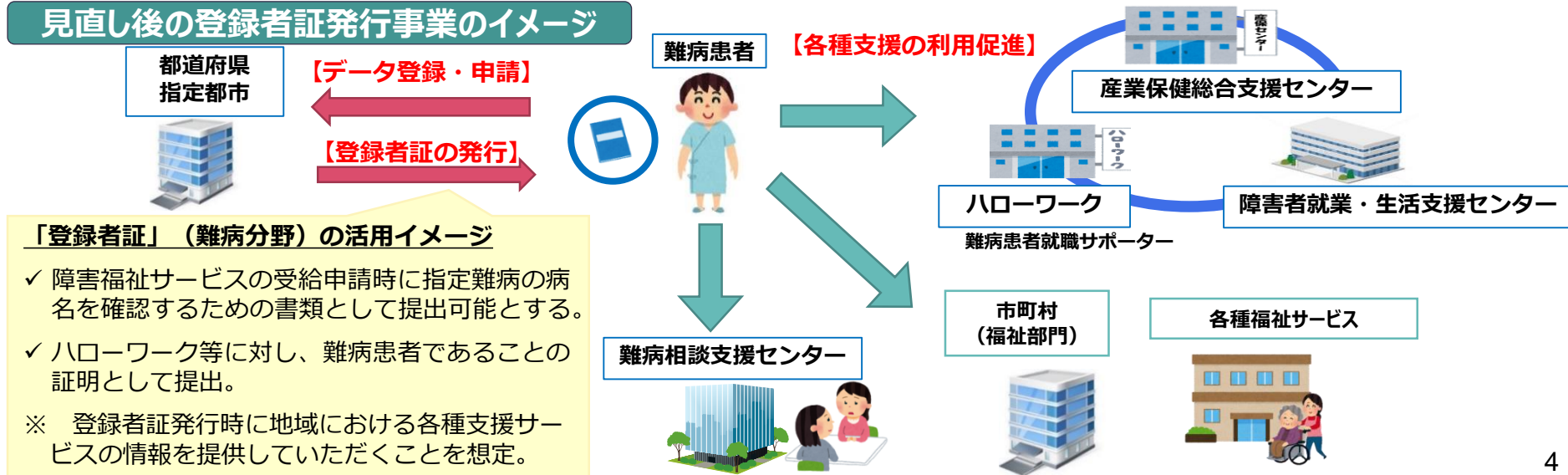
※登録者証（仮称）の発行事業は、難病は療養生活環境整備事業に、小慢は小児慢性特定疾病児童等自立支援事業のメニューに位置付ける。
- **様式や記載内容、活用方法**は、**以下の点を考慮して定める**。
 - ・ **自治体の事務負担等**（新たな書類の発行やシステム改修等）
 - ・ **地域における各種支援を受けやすくすること**

医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入 及び「登録者証」（仮称）の発行について②

論点と見直し（案）

論点	見直し（案）
登録項目	臨個票等の全ての記載項目としてはどうか（登録対象の①～③の者すべて同様）
登録頻度（有効期限）	それぞれ以下のとおりとしてはどうか。 【難病】 ①医療費助成を受けている者：受給者証の更新時（原則1年） ②重症度分類に関して医療費助成の不支給決定を受けた者：再登録不要（有効期限なし） ③軽症のため医療費助成の申請に至らない者：再登録不要（有効期限なし） 【小慢】 ①医療費助成を受けている者：受給者証の更新時（原則1年） ※上記以外の者については、登録者証のニーズを調査するなど、引き続き検討。
様式・記載内容	①医療費助成を受けている者：受給者証と一体型 ②重症度分類に関して医療費助成の不支給決定を受けた者：不支給決定通知書と一体型 ③軽症のため医療費助成の申請に至らない者：新規様式 様式は原則上記のとおりとし、いずれも発行日、疾病名、証明者等を記載することとする。併せて、地域で活用可能な障害福祉・就労支援サービスの情報を提供することとしてはどうか。
活用方法	障害福祉サービスの受給申請時やハローワーク等の利用時に指定難病の患者であることを確認できる書類として提出できることを、自治体やハローワーク等の関係機関に周知してはどうか。

見直し後の登録者証発行事業のイメージ



「登録者証」（難病分野）の活用イメージ

- ✓ 障害福祉サービスの受給申請時に指定難病の病名を確認するための書類として提出可能とする。
- ✓ ハローワーク等に対し、難病患者であることの証明として提出。
- ※ 登録者証発行時に地域における各種支援サービスの情報を提供していただくことを想定。

円滑に医療費助成が受けられる仕組みについて

(これまでの状況)

- 指定難病や小児慢性特定疾病に係る医療費助成の支給認定は、申請のあった日に遡って、その効力を生ずることとされている。一方で、医療費助成の申請の際には、臨床調査個人票や医療意見書を提出する必要があるが、これらの作成には一定の期間を要することや、症状が重症化した直後に医療費助成の申請を行う余裕がないことから、結果として、重症化直後の医療費が助成の対象となっていない場合がある。

(対応の方向性)

- 指定難病患者や小児慢性特定疾病児童等の立場を踏まえれば、臨床調査個人票や医療意見書の作成に要する期間や、医療費助成の申請を行う余裕の有無に関わりなく、医療費助成の対象となる状態になった時点で、速やかに医療費助成が受けられるようにすることが適当である。また、指定難病及び小児慢性特定疾病に係る医療費助成制度は、前述の臨床調査個人票や医療意見書の提出が求められているが、作成に一定の期間を要することは患者に起因する部分は少ないと考えられる。このような観点から、**医療費助成の開始のタイミングを現在の申請日から前倒して、重症化時点（認定基準を満たすことについて指定医が診断した日）からとすることが適当**である。
- 一方で、医療費助成の始期を申請日より前倒しすることは、**事務手続等において医療費助成の実施主体に与える影響を踏まえる必要があること**や、申請者である患者等にとっても、**できる限り早期の申請を行い、認定を受けていただくことが望ましいこと**、**他制度とのバランスに留意する必要があること**から、**前倒しする期間について、上限を設けることが適当**である。具体的には、**申請日から1ヶ月前までを限度とすることが考えられるが（*）、患者の病状や指定医の状況によっては1ヶ月以内に申請手続を行うことが難しい場合があり得ることも踏まえて設定されるべき**である。その際には**自治体の事務負担に留意するとともに、施行に当たっては、十分な周知期間を設けることが適当**である。

* 指定医に対するアンケート調査において、約99%が臨床調査個人票・医療意見書の作成の依頼があってから概ね1か月に作成を完了しているとの回答が得られている（厚生労働省健康局難病対策課調べ（令和2年3月））。

- 前倒しの対象患者について、本合同委員会における議論開始当初は、後述する「登録者証」（仮称）を有する患者に限定することを念頭に置いていたが、指定難病又は小児慢性特定疾病と初めて診断された時点で認定基準を満たしている患者等との公平性の観点等から、**軽症高額該当者も含め、医療費助成の対象となる全ての患者を対象とすることが適当**である。

医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入及び「登録者証」(仮称)の発行について

【医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入】

(これまでの状況)

- 指定難病の医療費助成は、研究目的の要素を併せ持つものである。他方で、現行の仕組みでは、医療費助成の申請を行った者であって、データの登録に同意した患者のデータのみしか登録されておらず、悉皆性を有するDBとはなっていない。一方で、症状が抑えられている時期のデータや、軽症から重症に至る経過を追うデータは貴重であり、こうしたデータを活用した研究により、新たな医薬品等の治療法の開発や診療ガイドラインの策定・改定などにつながるとともに、こうしたことが診療体制の一層の充実に寄与することも期待されることである。
- また、データ登録の方法は、現行の仕組みにおいては、医療費助成の申請時に、患者から地方自治体に対し提出された臨床調査個人票について、地方自治体がそのコピーを登録センターに送付する仕組みとなっており、患者や地方自治体の事務負担が課題となっている。

(対応の方向性)

- **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**を設けることが適当である。患者のデータ登録の流れは、医療費助成を受ける患者と同じとし、地方自治体が、**登録されたデータの研究利用に関する同意を取得すること**とすることが考えられる。
- **登録項目は、医療費助成を受ける患者と同じとし、頻度については同じとすることを基本**としつつ、患者の事務負担と研究の意義のバランスを踏まえた運用を検討することが適当である。
- 対象者は、指定難病については、指定難病の患者のうち認定基準を満たさない者とするのが適当である。**小児慢性特定疾病については**、例えば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一方で、**患者数が多い疾病は地方自治体等の事務負担への留意が必要**であるとともに、患者数が少ない疾病は認定基準が指定難病に比べて緩やかな基準となっている場合が多く、**すでに軽症者のデータは一定程度収集されている**ことが考えられる。
- **データを登録した者には、「登録者証」(仮称)を発行**することが適当であると考えられる。
- データ登録の必要性やメリットの周知等の取組を進めることが必要である。

【「登録者証」(仮称)の発行】

- データを登録した場合には、臨床データが国のDBに登録されることを証する「登録者証」(仮称)を発行することが適当であると考えられる。
- 「登録者証」(仮称)の交付目的は、①患者のデータの収集を行い、治療研究を推進する目的、②地域における各種の支援を受けやすくするという療養生活の環境整備等の目的の2つの目的を併せ持つものと整理することが考えられる。
- 「登録者証」(仮称)の発行主体については、「登録者証」(仮称)の交付目的や、患者の利便性、関係者の事務負担等を踏まえ、医療費助成の実施主体でもある地方自治体とすることが考えられる。
- 「登録者証」(仮称)の交付対象者については、上記①の目的を備えたものであることや関係者の事務負担等を踏まえ、DBへの登録に同意する者とするを基本とすることが考えられる(ただし、DBへの登録は希望しないが、「登録者証」(仮称)の交付を希望する者もいると考えられることから、地方自治体の判断で、こうした者に対しても交付することについても検討する必要がある。)
- 医療費助成の対象者については、「受給者証」が交付されることから、別途「登録者証」(仮称)を交付する必要はないこととする。
- 地方自治体の事務負担等に配慮し、「登録者証」(仮称)を医療費助成の不認定通知書といった既存の書式と一体的なものとするを認めるなど、柔軟な取扱いを認めることとすることが適当である。
- 「登録者証」(仮称)には、地域で利用できるサービスに関する情報を記載することが出来るようにすることが適当である。また、各種福祉サービスの利用に当たって必要となる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、関係者に働きかけていくこととすることが適当である。

(参考④) 指定難病患者への医療費助成制度（軽症高額該当基準）について

指定難病の医療費助成制度において、軽症者であっても、治療のために高額な医療費を負担している場合は、医療費助成の対象としている。

制度の趣旨

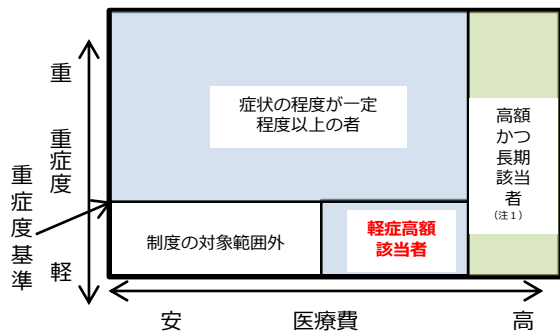
- 医療費助成の対象者については、広く国民に理解を得る観点から、「症状の程度が重症度分類等で一定程度以上である者」（重症者）としているが、「高額な医療を継続することにより、症状の程度が上記の重症度分類等で一定以上に該当しない者」（軽症高額該当者）についても医療費助成の対象としている。（図1参照）

対象となる条件（図2参照）

- 支給認定の申請日の属する月以前の12月以内（※）において、医療費総額が33,330円を超える月が3月以上ある患者

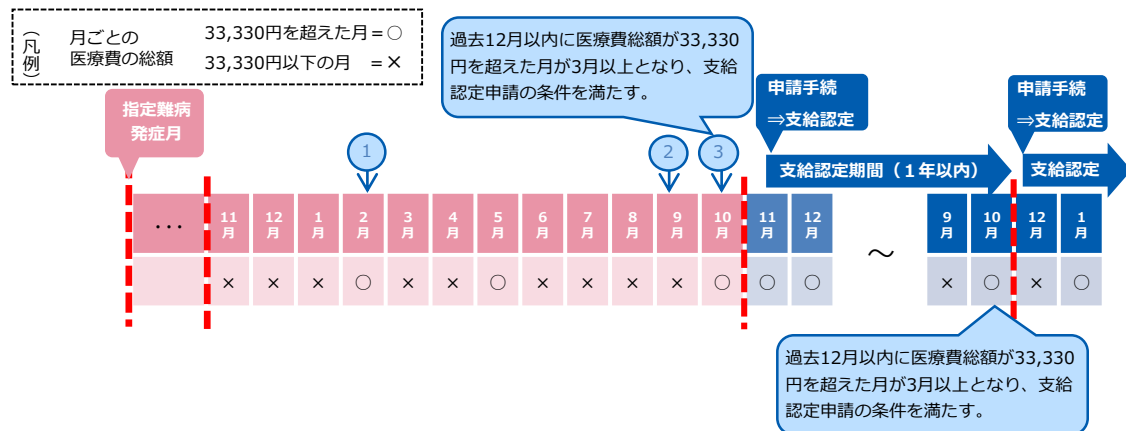
（※）①申請日の属する月から起算して12月前の月

②支給認定を受けようとする指定難病の患者が当該指定難病を発症したと難病指定医が認めた月を比較していずれか後の月から申請日の属する月までの期間。



（注1）「高額かつ長期該当者」とは、月ごとの医療費総額が5万円を超える月が年間6回以上ある者。

【図1：指定難病の医療費助成制度の対象範囲イメージ】



【図2：軽症高額該当者の対象条件イメージ】

その他の改正内容

※意見書の内容どおりに見直す事項

データベースの充実と利活用

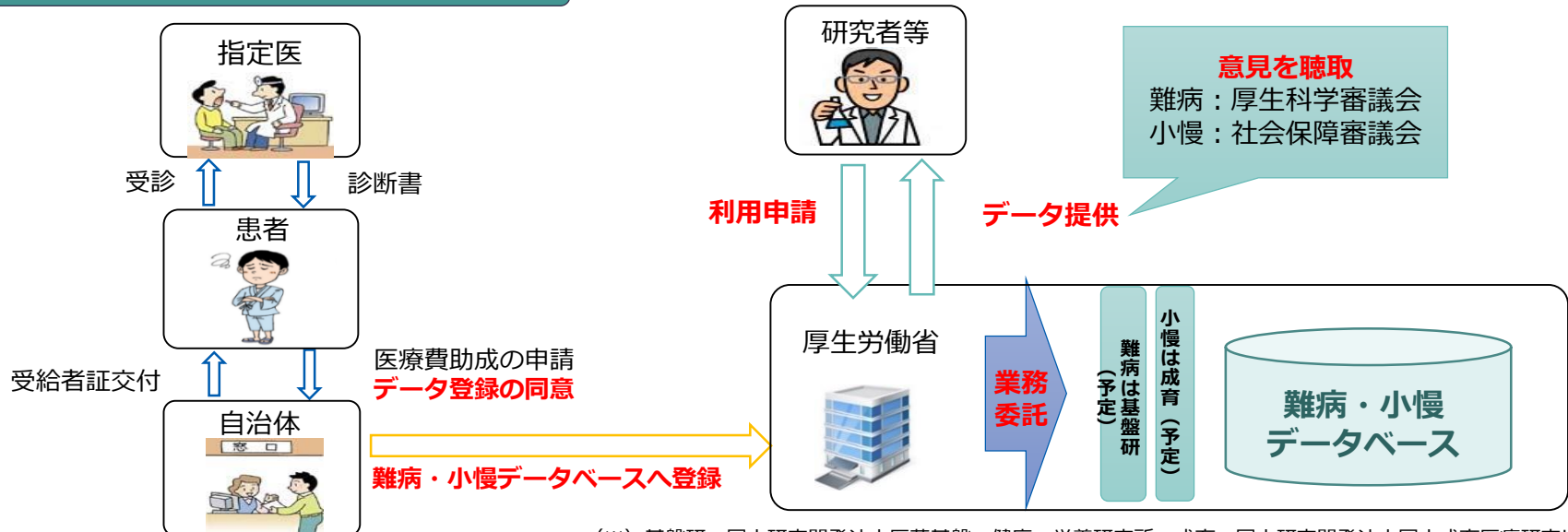
現状と課題

- ◆ 予算事業として難病・小慢データベースを運営しているが、法律上の規定はない。
- ◆ 医療費助成の申請時に提出する指定医の診断書情報をデータベースに登録しているため、医療費助成に至らない軽症者等のデータ収集が進んでいない。

見直し内容

- ◆ **難病・小慢データベースの法的根拠を新設。**
- ◆ 国による情報収集、都道府県等の国への情報提供義務、安全管理措置、第三者提供ルール等を規定し、**難病データベースと小慢データベースの連結解析や難病・小慢データベースと他の公的データベースとの連結解析を可能**とする。
- ◆ 軽症者もデータ登録可能とする。

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

地域における支援体制の強化

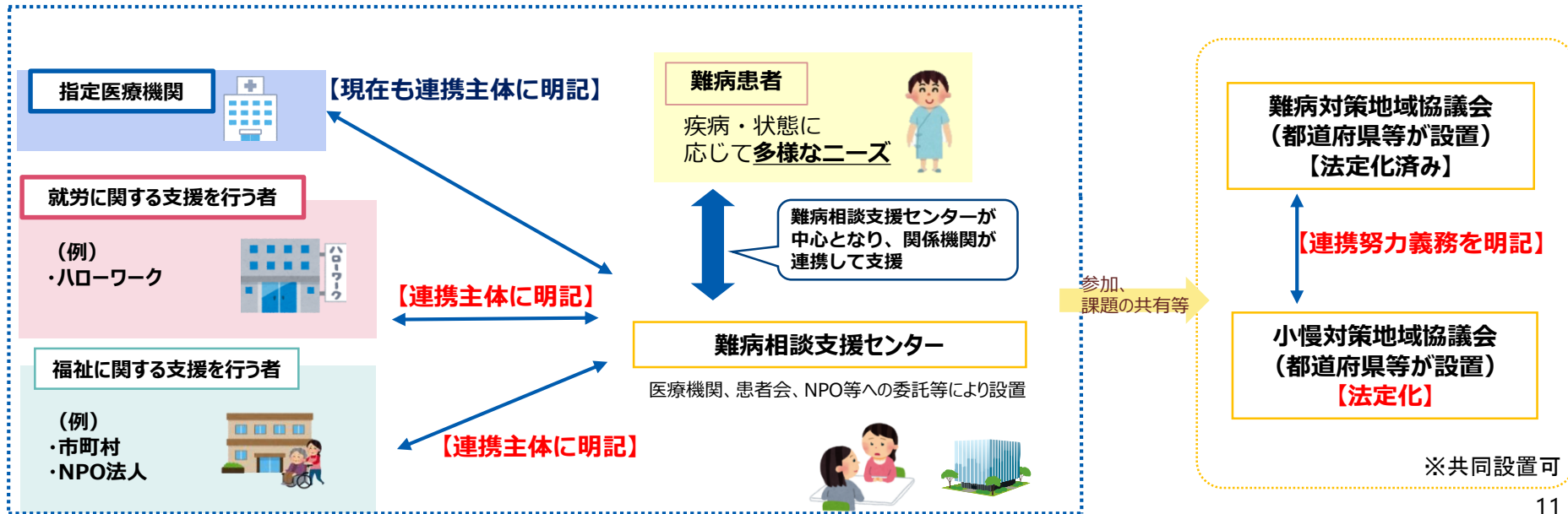
現状と課題

- ◆ 難病・小慢患者のニーズは多岐にわたることから、こうしたニーズに適切に対応するためには、福祉や就労支援など地域における関係者の一層の関係強化を図っていくことが重要。
- ◆ 小児慢性特定疾病児童等の成人期に向けた支援を一層促進するとともに、成人後の各種支援との連携強化に取り組む必要がある。

見直し内容

- ◆ 難病相談支援センターの連携すべき主体として、福祉関係者や就労支援関係者を明記。
- ◆ 小慢の地域協議会を法定化した上で、難病と小慢の地域協議会間の連携努力義務を新設。

見直し後の地域における支援体制（難病）のイメージ



小慢児童等の自立支援の強化

現状と課題

- ◆ 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業について、任意事業の実施率が低いことが課題となっている。
※療養生活支援事業:13.7%、相互交流支援事業:31.3%、就職支援事業:9.9%、介護者支援事業:2.3%、その他の事業:16.8%(令和3年度実績)

見直し内容

- ◆ 地域の小慢児童等やその保護者の実態を把握し、課題の分析等を行い、任意事業の実施及び利用を促進する「**実態把握事業**」を**必須事業**として新設。
- ◆ **任意事業の実施を努力義務化**。

見直し後の小慢児童等の自立支援のイメージ

必須事業

相談支援事業



個々のニーズ把握・相談支援
・自立支援員による相談支援
・ピアカウンセリング 等



実態把握事業 を新設

地域のニーズ把握・課題分析 等

支援ニーズに応じた
任意事業等の提供

任意事業【努力義務化】

療養生活支援事業

レスパイト等

相互交流支援事業

患児同士の交流、ワークショップ等

就職支援事業

職場体験、就労相談会等

介護者支援事業

通院の付添支援、きょうだい支援等

その他の事業

学習支援、身体づくり支援等