

患者からの申出等を起点とした指定難病の検討の進め方に関し
指定難病検討委員会において整理が必要な論点

1. 申出のあった疾病について、指定難病検討委員会において、既存の指定難病に含まれないこと、既存の小児慢性特定疾病に含まれないこと、研究班が存在しないこと等を確認することについて（資料 1－2「4.」関係）

本委員会で確認を行うタイミングをどのように設定するか？

- 本委員会で年に数回（数ヶ月に 1 回程度）の確認を行うこととし、それまでに申出のあった疾病について、まとめて確認を行うこととしてはどうか。
- 本委員会の開催の頻度について、申出の状況等を踏まえ、適宜見直すこととしてはどうか。

2. 指定難病の検討に資する情報の整理を難治性疾患政策研究事業の研究班で行うことについて（資料 1－2「5.」関係）

研究班において、どのような情報を収集し、整理を行えばよいのか？

- 通常の指定難病の検討時に必要となる情報を踏まえ、各疾病について、以下のような情報を収集・整理することとしてはどうか。
 - ・ 患者数
 - ・ 発病の機構の解明の状況
 - ・ 効果的な治療方法の有無
 - ・ 長期の療養の必要性の有無
 - ・ 客観的な診断基準の有無
 - ・ 重症度分類の有無