

患者からの申出等を起点とした指定難病の検討について

【現状】

指定難病の検討に当たっては、厚生労働科学研究費補助金事業における研究班及び関係学会で収集、整理された情報を基に、医学的見地より個々の疾病について、指定難病の各要件を満たすかどうかの検討を行っている。

一方で、難病は極めて種類が多いことから、疾病によっては当該疾病の研究を行う研究班が存在しないものもあり、その場合には指定難病の検討のそ上に上がらないことも考えられる。

【前提条件】

指定難病とされるためには、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長期の療養を必要とする、④患者数が人口の 0.1% 程度に達しない、⑤客観的な診断基準等が確立している、の 5 要件を満たすことが必要であり、各疾病がこれらの要件に該当するか否かについて審議会で審議するために必要な情報の収集が必要となる。

【整理すべき論点】

1. 研究班が存在しないような疾病について、どのように申出を受け付けることが現実的に可能か。
2. 本委員会における検討に必要な客観的な情報をどのように収集するか。

1. 研究班が存在しないような疾病について、どのように申出を受け付けることが現実的に可能か。

申出を行う者の範囲をどう考えるか？

- 本人に限る。
- 本人以外であっても、診療情報提供書を持参できる家族等を含む。

申出を受け付ける施設をどう考えるか？

- かかりつけの医療機関
 - 専門性のある医療機関等
- 例) 特定機能病院、臨床研究中核病院、都道府県難病診療連携拠点病院 等

2. 本委員会における検討に必要な客観的な情報をどのように収集するか。

誰が情報を整理するか？

- 申出を行う患者本人が作成
 - メリット：本人の意志が尊重されやすい。
 - デメリット：検討に必要な客観的な情報の質が担保されにくい。
- 申出を受けた施設の医師が作成
 - メリット：検討に必要な客観的な情報の質は比較的担保される。
研究班立上げ等は不要であるため速やかな対応が可能。
 - デメリット：当該疾病に精通した医師であるとは限らない。
- 研究班が作成
 - メリット：検討に必要な客観的な情報の質が十分に担保される。
 - デメリット：研究班の立上げ等が必要となり、指定までの期間が長くなる可能性がある。

注) 当該疾病を研究中の研究班が存在しない場合、

- 既存研究班の研究対象疾病を拡大して頂く
 - 新規の研究班を立ち上げる
- ことについて、指定難病検討委員会で検討、判断してはどうか。