

## 難病対策の改革に向けた取組について (案)

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

はじめに

我が国の難病対策は、昭和 47 年に「難病対策要綱」が策定され、本格的に推進されるようになって 40 年以上が経過した。その間、各種の事業を推進してきた結果、難病の実態把握や治療方法の開発、難病医療の水準の向上、患者の療養環境の改善及び難病に関する社会的認識の促進に一定の成果をあげてきた。しかしながら、医療の進歩や患者及びその家族のニーズの多様化、社会・経済状況が変化する中で、原因の解明にはほど遠い疾患であっても、研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがあるなど難病の疾患間で不公平感があることや、医療費助成について都道府県の超過負担が続いており、その解消が求められていること、難病に関する普及啓発が不十分なため、国民の理解が必ずしも十分でないこと、難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分であることなど、様々な課題が指摘されている。

こうした課題を前に、難病対策全般にわたる改革が強く求められるところとなり、当委員会としては、「希少・難治性疾患は遺伝子レベルの変異が一因であるものが少なくなく、人類の多様性の中で、一定の割合発生することが必然」であり、その確率は低いものの、国民の誰にでも発症する可能性があることから、「希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい」ことを基本的な認識として議論を重ね、平成 25 年 1 月に「難病対策の改革について (提言)」をとりまとめたところである。

8 月には社会保障制度改革国民会議報告書が公表され、ここにおいても難病対策の改革が盛り込まれたことから、9 月より検討を再開し、法制化に向け具体的な議論を行ってきた。今般、審議の結果、難病患者に対する良質かつ適切な医療の確保と難病患者の療養生活の質の向上を目的として官民が協力して取り組むべき改革の内容について、次のとおり取りまとめた。

国においては、1 月の提言及び本報告の内容に沿って、難病対策の法制化を進め、難病の克服と共生社会の実現に向けて、なお一層取組を期待する。

## 第1 難病対策の基本理念及び基本的事項

### 1. 難病対策の基本理念

- 難病（※）の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指すことを難病対策の基本理念とする。

※ 原因不明で、治療方法が未確立であり、生活面で長期にわたり支障が生じる疾病のうち、がん、生活習慣病等別個の対策の体系がないもの

### 2. 国による基本方針の策定

- 難病対策に係る基本方針を定め、難病に係る医療や研究開発の推進を図るとともに、福祉や雇用などの他の施策との連携を図る。

## 第2 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

### 1. 治療方法の開発に向けた難病研究の推進

- 疾患概念が確立されていない難病の疾患概念を確立し、診断基準の作成を行うための研究や、難病の診断・治療の適正化のための診療ガイドラインの作成を推進する。

- 難病の病態解明を行い、新規治療薬・医療機器等の開発につなげるための研究をさらに推進し、医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬であって難病の治療等に有効なもの開発の促進に資する取組についても引き続き進めていく。

- 難病に関する臨床研究・治験をさらに推進するため、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進のための取組を推進し、企業や研究者に対する支援策に取り組んでいくこととする。

- 厚生労働科学研究費を受けている難病研究班は、研究で得られた成果を還元することとし、広く国民が理解できるように難病情報センター等を通してわかりやすく最新情報を提供する。

## 2. 難病患者データベースの構築

### (1) 難病患者のデータ登録

○ 難病患者のデータを収集・登録することで、症例が比較的少なく、全国規模で研究を行わなければ対策が進まない難病について、一定の症例数を確保し、患者の症状、治療方法、転帰などを把握することにより研究の推進に結びつけるための難病患者データベースを構築する。

○ 難病患者データベースは、医療費助成の対象疾患に罹患した患者であれば医療費助成の有無にかかわらず全員が登録可能なシステムとする。「難病指定医（仮称）」<sup>(※)</sup> 又は「難病指定医（仮称）」と連携したかかりつけ医（以下「難病指定医（仮称）」等という）は、患者の同意の下、必要なデータの登録を行い、当該データ登録を行った患者に対して、関連情報を付加した「難病患者登録証明書（仮称）」を発行する。この証明書は、患者が相談などの各種サービスを受け際に活用できるよう検討する。

※ 「難病指定医（仮称）」については、次項（2）及び第3 2.（4）を参照のこと。

○ 「難病指定医（仮称）」等が医療費助成の支給、認定審査等に必要な項目を記載することとあわせて難病患者データの登録を行うことができるようにする。また、「難病指定医（仮称）」等の負担も考慮し、登録項目は年齢、性別、既往症、症状、合併症、治療薬、医療機関などとし、厳選する。

○ 登録された難病患者データは経年的に蓄積できるような仕組みとする。また、必要な場合に小児慢性特定疾患治療研究事業による患者登録データとの連続を可能にする仕組みとする。

○ 国際的に貢献するため、人種特異的疾患の病態解明・治療方法の開発研究等を推進するとともに、欧米等の患者データベースと協調し、国際連携を行うことで、疫学的情報の収集や病態解明・治療方法の開発研究を推進する。

## (2) 「難病指定医（仮称）」の役割

- 「難病指定医（仮称）」は、正確に診断し、適切な治療方針を立てることを主な役割とし、「新・臨床調査個人票〔新規〕（仮称）」（※）を発行し、これを患者が新たに医療費助成を申請する際の添付書類とする。あわせて、難病患者データのデータベースへの登録を行う。

※ 「新・臨床調査個人票（仮称）」については、第3 2.（5）を参照のこと。

- 患者が「医療受給者証（仮称）」（※）の更新を申請する際に添付する「新・臨床調査個人票〔更新〕（仮称）」については、「難病指定医（仮称）」等が発行する。あわせて、難病患者データのデータベースへの登録を行う。

※ 「医療受給者証（仮称）」については、第3 4. を参照のこと。

## (3) 難病患者情報の取扱い

- 患者情報を知り得る立場にある者・機関はその取扱いに当たっては、個人情報の保護に十分に配慮し、国、都道府県はそのために必要な取組を行う。

- 「難病指定医（仮称）」等から登録された難病患者データについて一元的に管理し、難病研究班に限定することなく、難病研究に携わる研究機関、医療機関等に対し、研究におけるデータの必要性や倫理的観点などについて審査の上、個人情報の保護について十分に配慮し、幅広く難病患者データを提供する仕組みを構築する。

## 3. 医療提供体制の確保

### (1) 医療提供体制の整備

- 診断や治療に多くの診療科が携わる必要がある難病に対応するため、都道府県は、「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」を三次医療圏ごとに原則1か所以上、「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」を適切な数指定し、地域医療の推進や入院・療養施設の確保等のため、「難病医療地域基幹病院（仮称）」を二次医療圏に1か所程度指定する。また、身近な地域において、医療費助成の対象となる医療を行う体制を確保するため、都道府県はかかりつけ医等のいる医療機関を含むように、「指定難病医療機関（仮称）」を幅広く指定する。

- 「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」は、広域的な医療資源等の調整等を行うため、「難病医療コーディネーター（仮称）」を配置するとともに、「難病医療地域基幹病院（仮称）」や地域の医療機関の医師等に対する研修を実施するなど、専門家の育成の役割も担う。
- 小児期に難病を発症した患者に対する成人後の医療・ケアを切れ目なく行うため、小児期からの担当医師等との連携を進める。

（2）難病患者に対する日常的な診療体制

- 難病治療を含む日常的な診療は、患者のアクセスも考慮し、「難病指定医（仮称）」の他、「難病指定医（仮称）」と連携したかかりつけ医が行い、必要に応じて「難病指定医（仮称）」が診療できるようにする。その際には、移動が著しく制限される患者の診療のため、「難病指定医（仮称）」等が巡回して診療を行う取組を進めることなどが考えられる。

（3）極めて希少な難病を診断するための医療提供体制

- 「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」は、多くの難病の診断が可能となるよう体制を整備し、「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」及び「難病医療支援ネットワーク（仮称）」と連携して、できる限り早期に確実な診断が可能となるよう努める。
- 国立高度専門医療研究センター、難病研究班、それぞれの分野の学会等が連携して「難病医療支援ネットワーク（仮称）」を形成し、全国規模で正しい診断ができる体制を整備する。

### 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. 医療費助成の対象疾患及び対象患者について

##### (1) 医療費助成の対象疾患

- 医療費助成の対象とする疾患は年齢によらず、①患者数が人口の0.1%程度以下、②原因不明、③効果的な治療方法が未確立、④生活面への長期にわたる支障の4要素を満たしており、かつ、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立している疾患とする。疾患の選定にあたっては難病研究で得られた成果を参考にする。
  
- 現行の特定疾患治療研究事業の対象疾患（56疾患）については、これまでの治療研究における成果を総括するとともに、そのうち上記の要件を満たさない疾患については、既認定者に対する予算措置の継続など新たな医療費助成とは別の対応を検討する。

## (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の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、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くとも、高額な医療を継続して必要とする者(※)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「高額な医療を継続して必要とする者」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。

## (3) 対象疾患の選定等を行う第三者的な委員会

- 対象疾患の選定や見直し、対象患者の認定基準の設定や見直し等を行うに当たっては、厚生科学審議会の意見を聴くこととする。
  
- このため、厚生科学審議会に新たに第三者的な委員会として、「対象疾患等検討委員会(仮称)」を設置することとし、難病対策委員会での対象疾患の選定等に係る考え方に基づき、審議を行うこととする。「対象疾患等検討委員会(仮称)」は難病に係る医療に見識を有する者で構成し、原則公開とする。なお、これ以外の、難病対策の在り方等の制度設計に係る審議については、引き続き難病対策委員会で行う。

- 制度の安定性・持続可能性を確保するため、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。

#### （４）「難病指定医（仮称）」の指定

- 「難病指定医（仮称）」については、難病に係る医療に関し専門性を有する医師（専門学会に所属し専門医を取得している医師、または専門学会、日本医師会（地域医師会）、「新・難病医療拠点病院（仮称）」等で実施する一定の基準を満たした研修を受講した医師等）であることを指定の要件とする。

- 都道府県は指定した「難病指定医（仮称）」の医師の氏名、勤務する医療機関の名称を公表する。

#### （５）都道府県における対象患者の認定

- 都道府県が指定した「難病指定医（仮称）」が、個々の難病患者に対して発行する「新・臨床調査個人票〔新規〕（仮称）」等に基づき、都道府県が設置する「難病認定審査会（仮称）」において医療費助成の対象患者を認定する。

- 「難病認定審査会（仮称）」については、難病に係る医療に見識を有する者で構成することとし、特に新規の申請については、「新・臨床調査個人票〔新規〕（仮称）」だけではなく、必要に応じて画像や検査結果のコピー等も活用するなどして、重点的に審査を行う。

### 3. 患者負担の在り方について

- 難病患者への新たな医療費助成の患者負担については、難病の特性をふまえて、負担割合を3割から2割に軽減し<sup>1</sup>、所得に応じて負担限度額を設定することとし、別添のとおりとする。

---

<sup>1</sup> 70歳以上の者のうち、医療保険で1割又は2割の負担割合が適用される者については、当該者に適用される医療保険の負担割合と同一とする。



- 医療費助成の対象となった者であって、高額な医療が長期的に継続する者（※）については、その負担に配慮し、負担の軽減措置を講じる。

また、人工呼吸器など、持続的に常時、生命維持装置を装着しており、日常生活が著しく制限される者については、負担の更なる軽減措置を講じる。

※ ここでいう「高額な医療が長期的に継続する者」とは、「月ごとの医療費が 50,000 円を超える月が年間 6 回以上となる者」（例えば医療保険の自己負担割合が 2 割の場合、医療費の自己負担が 10,000 円を超える月が年間 6 回以上となる者）とする。

- 受診した複数の医療機関等の自己負担（※）をすべて合算した上で負担限度額を適用する。

※ 薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。

- 階層区分を認定する際の所得を把握する単位は、医療保険における世帯とする。所得を把握する基準は、市町村民税（所得割）の課税額とする。

- 同一世帯内に複数の難病の医療費助成の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。

- 他の公費負担医療制度と同様、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担については、患者負担とするとともに、薬局での保険調剤に係る自己負担については、負担限度額に含める。

- 難病に係る医療については、医療保険での対応が基本であるが、地域によっては介護保険の医療系サービスで対応されている事情があることを踏まえ、都道府県が当該患者に対し、介護保険における医療系サービスについて必要と認める場合には医療費助成の対象とすることを可能とする。

なお、具体的な取扱いについては、国においてガイドライン等の検討を行う。

- 新たな制度を施行する時点で特定疾患治療研究事業の医療費助成の対象であった者については、負担増を緩和するため、以下のとおり3年間の経過措置を講じる。
  - ① 症状の程度が重症度分類等で一定程度以上である者（日常生活又は社会生活に支障がある者）に該当しない者についても、医療費助成の対象とする。
  - ② 負担限度額については、これまでの給付水準を考慮し、別添のとおり、負担の軽減措置を講じる。
  - ③ 特定疾患治療研究事業における重症患者については、これまで特例的に負担がなかったことを踏まえ、別添のとおり、負担の軽減措置を講じる。
  - ④ 入院時に係る標準的な食事療養の負担については、その1/2を公費負担とする。

#### 4. 「医療受給者証（仮称）」の交付

- 都道府県は、医療費助成の対象患者として認定した者に対し、「医療受給者証（仮称）」を交付する。有効期間は、定期的に難病患者データを収集するとともに、所得の変化等に対応するため1年間とする。

## 第4 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

### 1. 難病に関する普及啓発

- 難病情報センターにおいて、難病患者とその家族、医療従事者、難病患者と関わる者や広く国民一般にとって有用な情報を充実させる。
  
- 全国又は地域において、患者団体や自治体等が広く一般国民を対象として実施する難病に関する普及啓発の取組を支援する。

### 2. 難病患者の社会参加のための支援

#### (1) 難病相談・支援センターの機能強化

- 地域において、難病患者等の療養上及び日常生活上での不安の解消を図るなど、きめ細やかな相談や支援を行うため、難病相談・支援センターにおける取組の充実・強化を図る。あわせて、全国的な難病相談・支援センター間のネットワーク等の仕組みを導入することにより、均てん化・底上げを図る。
  
- 難病相談・支援センターの質の向上を図るため、職員の研修を充実させるとともに、難病相談・支援員の研修会への参加を促進する。また、患者の交流会等の開催を促進し、患者間の相互支援を推進するとともに、ピアサポートの研修会の開催を促進し、ピアサポートを行うための基礎的な知識・能力をもつ人材の育成を図ることも必要である。

#### (2) 症状の程度等に応じた取組の推進

- 症状の程度等に応じた、在宅療養、福祉サービス、ピアサポート、就労支援などの取組を推進する。また、地域において、難病患者への保健医療サービス等を行う者の育成、在宅での療養が必要な難病患者を介護する家族等の負担軽減に係る支援等を行う。

### 3. 福祉サービスの充実（障害福祉サービス等の対象となる難病等の範囲の拡大）

- 平成 25 年度から、障害者総合支援法に定める障害児・者の対象に難病等患者が加わり、その対象疾患として、当面の措置として、130 疾患（難病患者等居宅生活支援事業の対象疾患とされていたものと同じ範囲）が定められたところであるが、その対象疾患の範囲について、医療費助成の対象疾患の範囲等に係る検討をも踏まえ、見直しを実施する。

### 4. 就労支援の充実

- ハローワークに配置された「難病患者就職サポーター」を活用してハローワークと難病相談・支援センターとの連携の強化を図るとともに、「発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金」等の施策により、難病患者への就労支援の充実を図る。
- 難病雇用マニュアル<sup>2</sup>等により、事業主や関係機関に対し、可能な職務や就労形態、通院への配慮等の難病に関する知識や発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金等の既存の支援策の普及啓発を図る。また、労働時間等の設定に際し、特に配慮を必要とする労働者について事業主に求められる取組を示したガイドライン<sup>3</sup>や、こうした労働者に対する休暇制度の普及啓発を図ることも必要である。

---

<sup>2</sup> 「難病のある人の就労支援のために（平成 23 年 4 月独立行政法人高齢・障害者雇用支援機構障害者職業総合センター）」

<sup>3</sup> 「労働時間等見直しガイドライン」（労働時間等設定改善指針（平成 20 年厚生労働省告示第 108 号）

## 5. 「難病対策地域協議会（仮称）」

- 地域に保健所を中心とした「難病対策地域協議会（仮称）」を設置するなどして、相談、福祉、就労、医療など、地域における難病患者への適切な支援を図るとともに、難病患者の地域での活動を支援するため、専門性の高い保健師等（「難病保健医療専門員（仮称）」）を育成する。

## 第5 その他

### （1） 新制度の施行時期

- 難病対策の改革に必要な法案については、平成26年通常国会への提出を目指し調整を進める。その施行に当たっては、十分な準備期間を置くことが必要と考えられることから、施行時期は法案が成立した後概ね1年後の時期が想定されるが、できるだけ早い時期からの施行が望まれていることから、すでに医療費助成の対象となっている疾患に加え、新たに医療費助成の対象となる疾患の一部については、平成27年1月を目途に施行することができるよう必要な調整を行う。

### （2） 新制度の実施主体

- 医療費助成等の難病に関する施策（福祉や就労支援等を除く）を行う実施主体は都道府県とする。

ただし、より身近な地域で支援等を行うべきとの観点から、新たな制度において、大都市の特例を設け、政令指定都市等が実施主体となることについて検討する。

検討に当たっては、政令指定都市等の意見や事務体制等の現状を踏まえるとともに、新たな制度の実施状況や事務の移行などの準備等を勘案し、都道府県以外の自治体の実施主体となる場合には、施行後3年程度の準備期間を設ける。

## 難病に係る新たな医療費助成の制度案①

## ＜自己負担割合＞

- 自己負担割合について、現行の3割から2割に引下げ。

## ＜自己負担限度額＞

- 所得の階層区分や負担限度額については、医療保険の高額療養費制度や障害者の自立支援医療(更生医療)を参考に設定。
- 症状が変動し入退院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
- 受診した複数の医療機関等の自己負担(※)をすべて合算した上で負担限度額を適用する。

※ 薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。

## ＜所得把握の単位等＞

- 所得を把握する単位は、医療保険における世帯。所得を把握する基準は、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、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。

## ＜入院時の食費等＞

- 入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担について、患者負担とする。

## ＜高額な医療が長期的に継続する患者の特例＞

- 高額な医療が長期的に継続する患者(※)については、自立支援医療の「重度かつ継続」と同水準の負担限度額を設定。  
※ 「高額な医療が長期的に継続する患者(「高額かつ長期」)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(例えば医療保険の2割負担の場合、医療費の自己負担が1万円を超える月が年間6回以上)とする。
- 人工呼吸器等装着者の負担限度額については、所得区分に関わらず月額1,000円とする。

## ＜高額な医療を継続して必要とする軽症者の特例＞

- 助成の対象は症状の程度が一定以上の者であるが、軽症者であっても高額な医療(※)を継続して必要とする者については、医療費助成の対象とする。  
※ 高額な医療とは、月ごとの医療費総額が33,330円を超える月が年間3回以上ある場合(例えば医療保険の3割負担の場合、医療費の自己負担が1万円以上の月が年間3回以上)とする。

## ＜経過措置(3年間)＞

- 既認定者の負担限度額は、上記の「高額かつ長期」の負担限度額と同様とする。
- 既認定者のうち現行の重症患者の負担限度額は、一般患者よりさらに負担を軽減。
- 既認定者については、入院時の食費負担の1/2は公費負担とする。

# 難病に係る新たな医療費助成の制度案②

別添

☆新たな医療費助成における自己負担限度額(月額)

(単位:円)

階層区分	階層区分の基準 ( )内の数字は、夫婦2人世帯の場合における年収の目安)		患者負担割合:2割					
			自己負担限度額(外来+入院)					
			原則			既認定者(経過措置3年間)		
			一般	高額かつ長期	人工呼吸器等装着者	一般	現行の重症患者	人工呼吸器等装着者
生活保護	—		0	0	0	0	0	0
低所得Ⅰ	市町村民税 非課税	～年収約80万	2,500	2,500	1,000	2,500	2,500	1,000
低所得Ⅱ		～年収約160万	5,000	5,000		5,000		
一般所得Ⅰ	～市町村民税約7.1万円 (～約370万)		10,000	5,000		5,000	5,000	
一般所得Ⅱ	～市町村民税約25.1万円 (～約810万)		20,000	10,000	10,000			
上位所得	市町村民税約25.1万円～ (約810万～)		30,000	20,000	20,000			
入院時の食費			全額自己負担			1/2自己負担		