

# 指定難病の検討の進め方について

平成26年7月28日

# 指定難病の検討の進め方(案)

1. 指定難病の検討にあたって、難病に関する基礎的な情報を、厚生労働科学研究費補助金事業における研究班等で収集、整理する。
  - ※ 平成22年度より、「今後の難病対策のあり方に関する研究班」で、指定難病に関する要件及び認定基準について、学術的な事実関係の整理及び情報収集を行っている。
2. 指定難病検討委員会において、これまでに研究班等が整理した情報をもとに、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う。
  - ※ 指定難病とされるためには、「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「長期の療養を必要とする」、「患者数が人口の0.1%程度に達しない」、「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。
3. 指定難病検討委員会の検討の結果を、厚生科学審議会疾病対策部会に報告する。
4. 疾病対策部会において、指定難病について審議を行い、具体的な病名などを決定する。
  - ※1 参考人として患者の立場を代表する者が出席する。
  - ※2 疾病対策部会の議決をもって厚生科学審議会の決定となる。
5. 厚生労働大臣が指定難病を指定する。
6. 厚生労働大臣による指定後も、指定難病検討委員会において、難病に関する情報収集を継続的に行い、必要に応じて新規の指定難病の追加等の見直しを行う。

# 指定難病に関する要件及び認定基準についての検討(1)

「今後の難病対策のあり方に関する研究」の概要(平成22年度～)

## I 目的

関連学会や他の難治性疾患克服研究事業における研究班等からの情報を収集整理し、臨床的観点から難病の類型化、重症度分類等に関する資料を作成し、指定難病検討委員会に提出する。

## II 方法

- ①「希少性」、②「原因不明」(発病の機構が明らかでない)、③「効果的な治療法未確立」、④「生活面への長期にわたる支障」(長期療養を必要とする)⑤「客観的な診断基準等が確立している」の各要素を調査項目の参考とした。
- 各研究班に対して、研究成果や医学的事実に関する情報調査票を送付した。項目は以下のとおり。

診断基準(国際基準含む)、重症度分類、治療指針、患者数、生活面への長期にわたる支障(各臓器機能障害と長期に療養を必要とする割合など)
- なお、診断基準や文献等については、その写しの提出も求めた。

## 指定難病に関する要件及び認定基準についての検討(2)

### Ⅲ 研究体制

研究代表者: 松谷有希雄・国立保健医療科学院 (平成22～24年度、平成25年度)

研究代表者: 曾根智史・国立保健医療科学院 (平成26年度～)

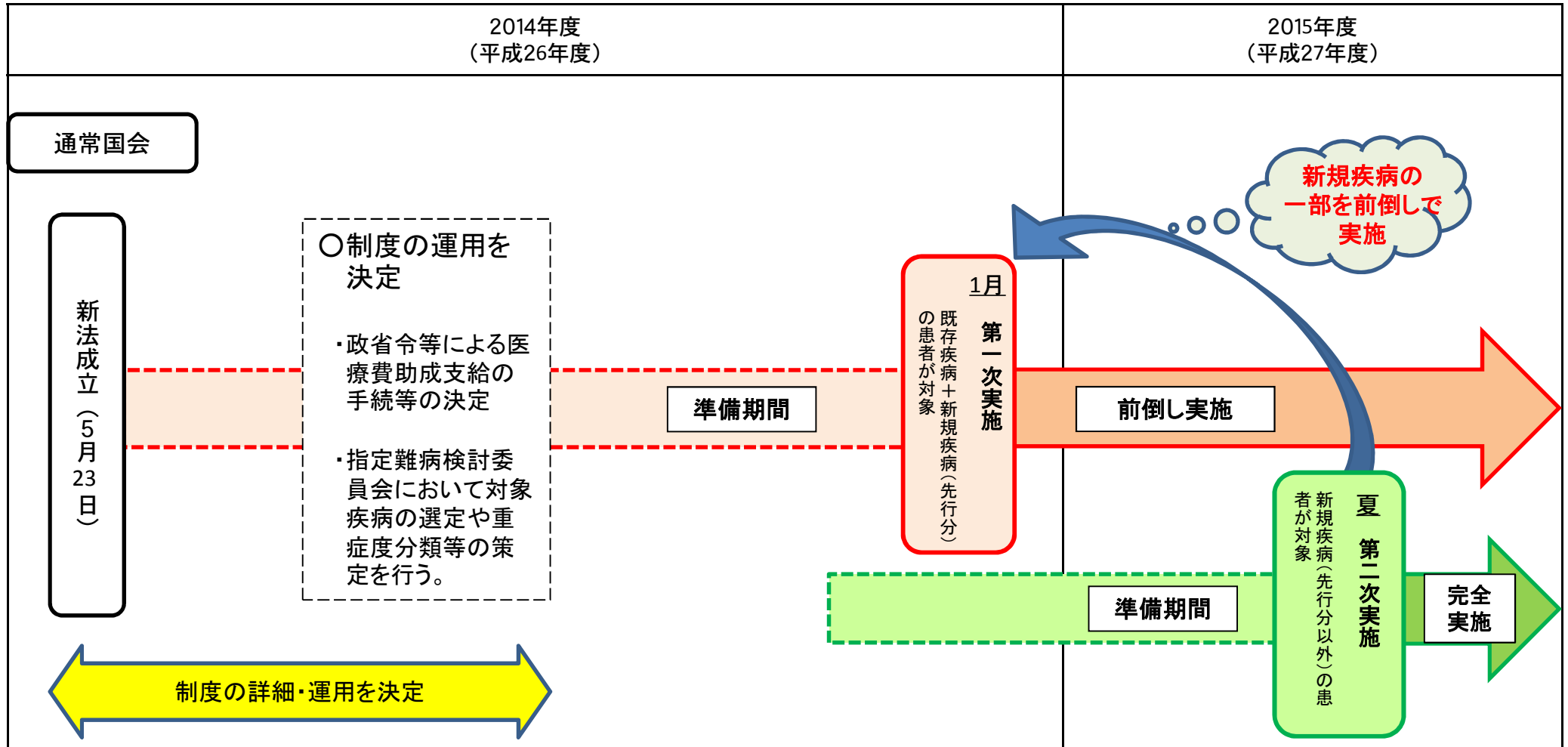
### Ⅳ これまでの研究成果

- 各研究班に対する、情報調査回答結果を基に各種文献等も調査し、患者数や、疾患に罹患した場合の罹患期間、転帰、治療法等について整理した。
- さらに、得られた情報を集約し、学会等に対し提示して追加情報を求めた。

### Ⅴ 今後の研究課題

- さらに指定難病の要件を満たす疾患の有無について、継続的な検討を行うため、同様の調査を行っている。

# 難病の患者に対する医療等に関する法律の施行について



## ○ 平成27年1月～: 既存疾病と新規疾病(先行分)について、新たな医療費助成を実施

- ・ 新規疾病の指定には十分な準備期間が必要であり、平成27年夏から新たな制度の実施が想定されるが、できるだけ早い時期からの実施が望まれることから、既存疾病と新規疾病の一部については、平成27年1月から前倒しで医療費助成を実施。

## ○ 平成27年夏～: 新規疾病すべてについて、新たな医療費助成を実施

- ・ 新規疾病すべてについて、平成27年度の夏から医療費助成を実施。

## 平成26年内の検討の進め方(案)

- 指定難病の決定から施行までには、患者及び医療機関への周知など、準備期間が必要であり、平成27年1月から医療費助成を行う第一次実施分の指定難病については、時間的な制約を考慮し、以下のように検討を行うこととしてはどうか。
  - ・ これまで医療費助成の対象となってきた特定疾患を中心に、指定難病の各要件を満たしているかについての判断材料が整った疾患を、検討対象とする。
  - ・ まず、特定疾患を中心に指定難病としての該当性や重症度分類等に関する検討を行い、あわせて、特定疾患と同時に検討が可能な疾患についての議論も行う。
  - ・ さらに、小児慢性特定疾病として新たに追加されることが検討されている疾患のうち、指定難病の各要件を満たしているかについての判断材料が整った疾患について、検討を行う。
  
- 以下の①から③のように、現時点で検討に時間を要する疾患については、第二次実施分(平成27年夏から実施)の指定難病の検討に向けて基礎的資料の収集・整理を行った上で、今秋以降に、本委員会で議論することとしてはどうか。
  - ① 学術的な整理や情報収集が不十分な疾患
  - ② 症状名がそのまま疾患名となっている疾患
  - ③ 新しい診断基準等を作成中の疾患 等

## 今後のスケジュール(案)

- 第1回  
(7月28日)
- 指定難病の検討の進め方について
  - 指定難病の要件について
- 第2回  
(8月1日)
- 個別疾患の検討について①
- 第3回  
(8月4日)
- 個別疾患の検討について②
- 8月中目途
- とりまとめ