

## 「指定難病の要件について」に係る主な意見について

(第1回委員会での指摘事項の概要)

### 1. 指定難病の要件について

(全般)

- これまでに医療費助成の対象となっている特定疾患と指定難病とでは、要件の基本的な考え方に大きな変更はないが、特定疾患であっても改めて指定難病としての要件を満たしているか、検討を行うべき。
- 小児慢性特定疾病と指定難病は別の制度であり、小児慢性特定疾病であるか否かに関わらず、指定難病の要件に基づき個別に検討を行うべき。

(1)「発病の機構が明らかでない」ことについて

- 病態の解明が十分、不十分のいずれにあたるかについては、根治的な治療方法の有無も含めて総合的に検討を行うべきではないか。
- 特定の外的要因と疾病との関係が明らかとされている場合であっても、日常生活を送る上で避けることが事実上困難な要因の場合には、「発病の機構が明らか」と機械的に判断することは避けるべきではないか。
- ウイルス等の感染が原因となって発症するとされる疾病の中にも、その因果関係が十分に解明されていないものもあり、個々の病態に基づき判断することとしてはどうか。
- がん等の明らかな先行疾病があり、その疾病に連続してみられる症状は、二次性としてよいのではないか。一方で、合併することは多いが、因果関係が明らかでないものについては、個々の病態に基づき判断することとしてはどうか。

(2)「治療方法が確立していない」ことについて

- 継続的な治療により症状の改善が期待できるが、治癒することが見込まれない疾病については、重症度を設定する際にその治療方法や治療効果を検討することとしてはどうか。

(3)「長期の療養を必要とする」ことについて

- 「症状が総じて療養を必要としない程度」については、将来的な重症化リスクに係る医学的知見を加味して判断してはどうか。

(4)「患者数が本邦において一定の人数に達しないこと」について

- 資料にある考え方で、進めてはどうか。

(5)「診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていること」について

<「客観的な指標」について>

- 生化学的検査(血清学的検査)についても記載するとともに、視診、聴診、打診、触診等については、理学的所見として他の検査と同等な「客観的な指標」であることが明確にわかる記載とすべき。

<「一定の基準」について>

- 学会や国際的専門家会合等において完全に承認されている基準は限られており、医療者間でコンセンサスのある基準は議論の対象としてはどうか。

## 2. 認定基準についての考え方

- 重症度分類についても医師の専門性による判断のみに頼ることなく、客観的なデータに基づき判断できるものとすべきではないか。
- 重症度分類を検討するにあたっては、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であっても、高額な医療を継続することが必要な者については、医療費助成の対象とすることが前提である。