

# 基本方針検討に向けた難病対策委員会における主な意見

## 1. 難病の患者に対する医療等の推進の基本的な方向

- ・ 難病の特性に応じて、社会福祉その他の関連施策との有機的な連携に配慮しつつ、総合的に行われなければならないという基本理念にのっとり、在宅療養生活や社会参加を支えるための医療と福祉が連携した総合的なケア支援ネットワークが必要ではないか。
- ・ 難病の特性の一つとして、長期に渡り療養を必要とするという観点を基本認識にも入れるべきではないか。
- ・ 基本認識に対する国民の理解を求めつつ、難病対策を推進するべきではないか。
- ・ 難病対策の基本理念等にのっとり、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ために、専門医療からの観点と地域との連携が重要ではないか。
- ・ 基本認識に関して、提言の言葉使いと基本方針の言葉使いにズレがあるのではないか。

## 2. 難病の患者に対する医療費助成制度に関する事項

- ・ 指定難病の検討については、できる限り幅広い疾病を検討の対象とすべきではないか。
- ・ 指定難病の検討に当たっては、明らかに難病の要件を満たさない疾病は検討の対象とするべきではなく、事務局において一定の整理を行った上で提出すべきではないか。
- ・ 患者から指定難病であるのにも関わらず、重症度分類等で医療費助成の支給認定を受けることができなかったということをよく聞くため、重症度分類など難病制度の理解促進が必要なのではないか。
- ・ 指定難病の検討に当たっては、小児系の学会からも一定の意見を聞いて頂くことが必要ではないか。
- ・ 検討の対象を明示することによって、患者が不安にならないよう情報の出し方についても工夫をするべきではないか。
- ・ 幅広い疾病を検討するためには、十分に研究がなされていない疾病について研究が進められるような体制の確保が必要ではないか。
- ・ 指定難病の診断基準について、国際的な診断基準を踏まえたものであるべきではないか。
- ・ 指定医療機関及び指定医の指定状況を把握すべきではないか。
- ・ 各疾病における特定医療の範囲について明確にするべきではないか。

## 3. 難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項

- ・ かかりつけ医、地域の基幹病院、及び専門医療機関との役割分担を明確化しつつ、相互に顔が見える関係性を構築することで意思疎通を図るなど、十分な連携体制を確保することが重要ではないか。

- ・ 医療提供体制のひな形について具体的に検討が必要ではないか。
- ・ 提言には書かれていた拠点病院（総合と疾患別）が、その後の検討資料の中で触れられていないが、難病診療体制の具体的な体制を示す必要があるのではないか。
- ・ 医療提供体制のひな型として、診断と治療面での全国ネットワーク、地域ネットワークと情報共有・相互補完体制が必要なのではないか。
- ・ 難病の特性に鑑みて、各疾病や領域ごとに指定医を配置することが必要ではないか。
- ・ 患者があまり遠方まで出向くことなく、画像や検体送付などの情報のやりとりを通じて、それぞれの地域で診断ができるよう工夫することが必要ではないか。
- ・ 各施設の難病患者受け入れ能力等を踏まえると、各都道府県に1つの難病医療拠点病院（総合型）を配置することは現実的に適切なのか検討が必要ではないか。
- ・ 診療圏外から患者の紹介が加速した場合、一極集中により医師や病床が不足し、他の患者への診療が遅れてしまうのではないか。
- ・ 一極集中を避ける為に、地域での診療ネットワークを作り、軽快した患者については身近な医療機関で受診できるよう、地域の拠点病院に専門医を定期的に派遣することなどが必要ではないか。
- ・ 患者は、比較的元気な時には、遠方の専門的な医療機関を受診したいと考えるが、遠方の医療機関では、患者の生活に、よりそった治療は困難であり、できる限り身近な医療機関で治療を受けることが可能にするためにも、それぞれの地域において、提供可能な医療について、広く情報提供を行うことが必要ではないか。
- ・ 症状が安定していたとしても突然に重症化する場合もあり、間接的にでも専門医と繋がることが重要ではないか。
- ・ 地域で治療を受けられるよう、専門的知識を伝達する仕組みを設け、地域医療のレベルを向上させることが必要ではないか。
- ・ レスパイト入院や難病医療専門員の確保も必要なのではないか。
- ・ 診断時、年1回の診断と治療フォロー時に専門医にかかることが必要ではないか。
- ・ 複数診療科が関与する疾病も多く、それぞれの診療科の連携を図ることも重要ではないか。
- ・ かかりつけ医を含めた全ての医療機関で診断力を高め、できる限り早く確定診断をつけることが必要なのではないか。
- ・ セカンドオピニオンを受けやすくする仕組みが必要ではないか。
- ・ 遺伝子診断を適切に実施できるようにするために、長期的には遺伝情報による差別を禁止する法令等についても検討が必要ではないか。
- ・ 治療の効果を上げるため、また、職場での安全健康配慮を確実にするために、就労支援と医療体制が何らかの形で連携できるような枠組みの検討が必要ではないか。
- ・ できる限り早期に正しい診断ができ、より身近な医療機関で適切な医療を受ける範囲には外来も含まれるのであるから、これも明示すべきではないか。
- ・ 都道府県が医療提供体制を構築する際に、小さな県で構築することは難しいのではないか。

#### 4. 難病の患者に対する医療に関する人材の養成に関する事項

- ・ 難病指定医の指定について、その数を増やすというだけでなく、指定医の質の向上

- など指定の在り方についても検討すべきではないか。
- ・ 患者の声を大事にする医師の育成が重要ではないか。
  - ・ 現状では医療機関における難病の患者の就労相談・支援（就労可能性や留意事項の助言、休職時の復職に向けた相談支援等）には主に医師がインフォーマルな形で担当していることが多く、看護師やMSW等との役割分担ができる体制が必要ではないか。
  - ・ それぞれの医師の専門性を育てていく仕組みを考慮すべきではないか。
  - ・ 保健所が有効に機能するよう、現在の保健所の業務について見直しを行い、「難病保健医療専門員」による定期的な難病の患者への在宅訪問活動や地域での難病の患者への活動支援は重要ではないか。
  - ・ 介護や福祉サービス、訪問リハビリなどを提供する者に対して難病の特性に応じた人材育成も重要ではないか。
  - ・ 医療と福祉の連携という観点では、相談支援事業所の相談支援専門員の育成が重要であるが、難病は患者数が少ないため、ノウハウが蓄積されにくいのではないか。
  - ・ 医療・福祉・介護の垣根を越えた人材育成が必要ではないか。

## 5. 難病に関する調査及び研究に関する事項

- ・ 実用化研究事業と政策研究事業との連携を厚生労働省やAMEDと連携して進めるべきではないか。
- ・ 根治治療がなくとも、早期診断・早期治療、療養生活におけるケアの向上は必要であり、難治性疾患政策研究事業は重要ではないか。
- ・ 疾患に対する医師の認知状況によって治療法が異なることから、治療のガイドラインを作成し、効果のある医療体制によって患者の治療環境の改善が必要なのではないか。
- ・ 研究班と医療機関の連携を推進し、治療効果等をより多く得るために難病医療支援ネットワークの構築が重要ではないか。
- ・ 学会と連携した臨床医・基礎研究者のネットワークや情報共有の促進、症状の記載方法の標準化・国際化が重要ではないか。
- ・ 研究という観点では軽症者の情報も重要であり、医療費助成対象外の軽症者も含めた難病患者データ登録制度を構築すべきではないか。
- ・ 軽症者が負担なく登録制度に協力できる環境及び継続的に個人の疾病の経過と転帰が分かることが必要ではないか。
- ・ 治療法研究班と医療費助成の研究班のデータがリンクできるシステムの構築をすべきではないか。
- ・ 医療費助成という福祉的な仕組みと、研究のための患者データの登録システムはある程度分けて科学的な見地から研究システムを作ることが大切ではないか。
- ・ 国際基準に合うようなデータ登録を一緒に進めることは、福祉から多少離れた観点で医学的、科学的な見地から仕組みを作ることが重要ではないか。
- ・ データベースの中央事務局は事業化すべきではないか。
- ・ データベースへの患者データ入力に関して、医師に対する入力へのインセンティブ

付けが必要なのではないか。

- ・ 医療費助成の対象とならない指定難病の患者が毎年医療機関へ通いデータ登録に協力するためのインセンティブが必要なのではないか。
- ・ データベースへ医師が患者の情報を入力するにあたって、患者に対して同意書をとる必要があると思うが、この点について制度として円滑に運用できるよう検討が必要ではないか。
- ・ 登録制度に関して、匿名化してあっても同じ患者の情報を連結可能なものにすることや、これまで登録していた患者が、登録から外れた場合でも、その後の経緯を追えるような制度が必要ではないか。
- ・ 似たような2つの疾患があった場合、そのうち1つだけ病態が解明されていない疾患だった場合に、そこで研究を打ち切るのではなく、多少曖昧な部分についても研究を行うべきではないか。
- ・ 臨床医が研究しやすい体制の構築を検討すべきではないか。
- ・ 治験ができる臨床研究者を育成することが重要ではないか。
- ・ 国際的な研究の協力体制が必要なのではないか。
- ・ 難病の研究を進めるために、貴重な検体が長期間保存できる体制について検討することは重要ではないか。
- ・ 医療に関する調査研究だけでなく、難病の患者の生活や実態に関する調査研究も重要ではないか。

## 6. 難病の患者に対する医療のための医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発の推進に関する事項

- ・ 薬剤を継続的に使用可能とするために企業への負担を減らすべきではないか。
- ・ 政策研究事業について、研究者に対してある程度自由度を持たせることが必要ではないか。
- ・ 患者数が少ない疾病に必要な医薬品について特定の企業だけが供給義務を追い続けることになっているが、これに代わる仕組みはできないか。
- ・ 医薬品や医療機器を大学等で開発した場合に、それを製品化する企業を支援する構造を作っていくべきではないか。
- ・ 製薬企業にとっては、主要評価項目等を始めとする多くの患者の症状をデータベース化し、薬の承認取得の負担について配慮があると良いのではないか。
- ・ 医薬品を開発する企業側にとっては、疾患の自然歴、薬効を評価するバイオマーカー及び長期予後との相関性のあるマーカーなど、疾患に関する情報が必要とならないか。
- ・ 国内で得られたデータが海外でも使えるよう診断基準や評価基準が統一されたものができていると、企業も希少医薬品等の開発を受け入れやすいのではないか。
- ・ 時系列で患者の症状をみていくことが重要ではないか。

## 7. 難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項

- ・ 難病相談支援センターの役割は、地域資源等の繋ぎ役をしていくということではな

いか。

- ・ 難病相談支援センターの職員に関する人材育成について、職員のスキルアップとともに、職員が十分にそのスキルを発揮できるよう職員の処遇の改善が必要ではないか。
- ・ 難病対策地域協議会の在り方について、当事者が参加しやすい環境を作ることは重要ではないか。
- ・ 難病患者を支援するためには、難病相談支援センターを中心に、行政の対応の隙間を埋めるように関係機関等とネットワークを構築していることが重要ではないか。
- ・ 重度の難病患者に対して地域生活を支援する制度が必要なのではないか。
- ・ 難病相談支援センターの人材が十分ではないのではないか。
- ・ ピアサポートが重要ではないか。
- ・ 地方公共団体からの患者会の交流に関する財源を積極的に確保すべきではないか。
- ・ 療養生活環境整備事業等、義務的経費化されない事業について地域間格差が生じないように対応すべきではないか。
- ・ 難病の患者が地域の中で完結して支援を受けられるような地域包括ケアシステムのような体制が必要ではないか。

## 8. 難病の患者に対する医療等と難病の患者に対する福祉サービスに関する施策、就労の支援に関する施策その他の関連する施策との連携に関する事項

- ・ 人工呼吸器装着者のような重度の方に対する訪問看護や療養通所介護等の複合的な支援が重要ではないか。
- ・ 「障害者総合支援法における障害支援区分難病患者等に対する認定マニュアル」を通じて、難病の様々な特性に応じた理解を深めるべきではないか。
- ・ 難病の患者の地域生活を支援するため、福祉サービス、就労支援施策なども含めた社会参加を支えていくことが重要ではないか。
- ・ 医療と福祉、介護の連携が重要ではないか。
- ・ 医療と福祉が連携した総合的な支援ネットワークが必要ではないか。
- ・ 医療と福祉が連携するためには、福祉型で医療が安全に受けられるような体制の検討が必要ではないか。
- ・ 福祉の枠組みで難病患者を支援する場合、地域差が大きいことが問題ではないか。
- ・ 難病患者が就労する際に、病名を開示したとしても事業者が偏見を持たない社会が必要なのではないか。
- ・ 効果的な難病保健活動継続のためには、難病特別対策推進事業の拡充、行政組織の活動体制の確保や人材育成が必要ではないか。
- ・ 介護保険の使えない若年難病患者を支援するための相談支援専門員等の人材育成が必要ではないか。
- ・ 企業に対して助言や、患者のサポートを行うための医師を企業に配置することが必要なのではないか。

- ・ 難病患者就職サポーターの早急な育成と増員が必要なのではないか。
- ・ シンポジウム等を通じて難病患者の就労について市民の理解が深まっていることにより、難病患者の社会参加を支えようという雰囲気が醸成されるのではないか。
- ・ 就労支援と医療体制が連携して、就労の復職支援、定着支援を図るべきではないか。
- ・ 難病の患者に対する法定雇用率の検討が必要ではないか。
- ・ 難病の患者が就労する際に差別されない法制度の整備が進んでいることを認識し活用を進めるべきではないか。
- ・ まずは施策に取り組みやすい国は先導を切り、その後関係者が取り組むという形ではないか。
- ・ 患者家族についても配慮が必要ではないか。

## 9. その他難病の患者に対する医療等の推進に関する重要事項

- ・ 難病の患者への支援を進めるため、ヘルプマークの利用は有効ではないか。
- ・ ヘルプマークの利用に関して、患者には、付けたい人も付けたくない人もいないか。
- ・ 普及啓発を推進するために、研究班の報告会の際に市民講座を実施することで難病に対する社会教育に繋がるのではないか。
- ・ 難病患者の家族の健康管理や住宅ローンの支払いに係る問題等、生活の視点が重要ではないか。
- ・ 情報収集の手段が限られた者に対する公平な情報提供の対策が必要なのではないか。
- ・ 難病であることを隠さずに生きられる社会作りが必要なのではないか。
- ・ 難病に対する正しい知識を普及するために検討が必要ではないか。
- ・ 難病に関する啓発活動については、国民だけではなく、企業に対しても理解を求めるべきではないか。
- ・ 難病の患者が難病であることを開示して社会に対して支援を求めることができるよう検討が必要ではないか。
- ・ 難病に関する啓発では、病気や支援ニーズだけでなく、病気をもちながらも生活を送る同じ国民であるという認識(ノーマライゼーション)の啓発も必要ではないか。
- ・ 基本方針に記載されている各種施策について、具体的な行程表を示すべきではないか。