

特定疾患対策懇談会における議論の整理について

<p style="text-align: center;">特定疾患対策懇談会委員の意見</p> <p style="text-align: center;">(これまでの審議及びその後に寄せられたもの)</p>	<p style="text-align: center;">特定疾患治療研究事業の対象の見直しに関する 議論の整理 (案)</p>
<p style="text-align: center;">【議事要旨を参照】</p>	<p>① 平成14年8月の難病対策委員会中間報告において、患者数が希少性の要件である5万人を上回った疾患について、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことを検討することとされていることから、平成18年8月から、特定疾患対策懇談会において、具体的な取り扱いについて専門的な検討を行った。</p>
<p style="text-align: center;">【議事要旨を参照】</p>	<p>② 特定疾患治療研究事業の対象は、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない(希少性)、②原因不明、③効果的な治療法、④生活面への長期にわたる支障の4要件を満たす必要があるが、患者数が5万人を上回り希少性を満たさなくなった疾患を引き続き事業の対象とすることは、事業の対象以外の疾患との公平性を欠いている等のため、希少性の要件を上回った疾患について、見直しを行うことが適当である。</p>

<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>③ 患者数の増加により、希少性の要件を超えている3疾患のうち、全身性エリテマトーデスについては、5万人を超えたものの、ここ数年の患者の伸びは5万人の近傍でほぼ横ばいとなっていることから、引き続き患者数の動向を見守る必要がある。</p>
<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>④ 希少性の要件を大幅に上回る潰瘍性大腸炎及びパーキンソン病については、診断・治療技術の普及や治療成績の改善がみられるものの、未だ原因が不明であることなどから、特定疾患からの除外は行わず、希少性の要件に該当するよう特定疾患治療研究事業の対象者の範囲を見直す。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ○ 重症度分類を用いるのが一番よい。 ○ 臨床的重症度が、簡便で広く用いられている唯一の重症度分類である。 ○ 中等症・重症だけを対象とすれば希少性の要件を満たす。 ○ 診断・治療法の進歩により軽症者が増えており、特定疾患の本来の目的からすると、治療に反応しない、中等症以上の者を対象とすべき。 ○ 軽症は6項目のいずれも満たさないなど日常生活への支障は少ないため、対象としなくてよい。 ○ 中等症・重症を対象にするのがよいと考える。 ○ 重症のみを対象としてはどうか。 ○ 高価であると患者さんが心配している治療の多くは中等症以上を対象としている。 ○ 治療をやめて重症化することがないようにも配慮すべき。 	<p>⑤ 潰瘍性大腸炎については、臨床的重症度を認定基準として用いることとし、臨床的重症度が中等症以上の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。</p>

- 重症度という視点から要件を少し強めることが適当。
- 患者さんもたいへんなので、5万人にできるだけ近いところで考える方がよいが、患者数を考えると、ヤール4、5度だけを対象とせざるを得ない。
- 基準を設けるとなると、介助の必要性が目安となり、ヤール4度以上、生活機能障害度2度以上を対象とするのが適当。
- 介助を要するヤール4度以上を対象とするのがよい。
- ヤール4度以上、生活機能障害度2度以上の人を対象とすることが考えられるが、ヤール3度の患者の状況なども十分に踏まえることが望ましい。
- 4度、5度を対象とするというのが最も考えやすい。次善の案として、可能なら3度を2つに分けることも考えられるか。
- ヤールの4度以上を対象とするということになるだろうが、薬代が比較的高いことが悩ましい。
- 薬代が高い患者がいることから見直しの影響について十分に配慮すべき。
- 治療をやめて重症化することがないようにも配慮すべき。
- 健康保険の制度が理解されていないために必要以上に不安を招いているのではないか。
- 現在の対象疾患以外の患者にも経済的に苦しい人はいることから、公平性の点からは、5万人という基準は守る必要がある。

- ⑥ パーキンソン病については、これまでと同様、Hoehn&Yahr重症度及び生活機能障害度を認定基準として用いることとし、Hoehn&Yahr重症度が4度以上で、生活機能障害度が2～3度の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。

<ul style="list-style-type: none">○ 潰瘍性大腸炎の疾患の活動性が変化することから、重症化した際にはできれば迅速に特定疾患治療研究事業の対象とできることが望ましい。	⑦ 特定疾患治療研究事業の対象から外れる軽症者が増悪した際には迅速かつ円滑に対象とすることができるよう留意することが望ましい。
<ul style="list-style-type: none">○ 潰瘍性大腸炎の重症度分類に、排便の回数など、患者からみた指標があるので、将来は客観的な指標を加える努力も必要ではないか。○ パーキンソン病は日内変動があるなど、ヤール3度と4度の間のグレーゾーンの人はいるので、現場の運用で不公平にならないよう配慮することが望ましい。	⑧ 重症度の基準を特定疾患治療研究事業の認定基準として用いることから、基準が適正に運用されるよう、評価を行うことが望ましい。
<ul style="list-style-type: none">○ 2疾患は、患者数が増えていることから、研究に関してはこれまで以上に十分な対応が必要。○ 特定疾患治療研究事業と難治性疾患克服研究事業のうち、難治性疾患克服研究事業の研究費の割合を増やす努力が必要。○ 特定疾患治療研究事業の対象者が研究に協力するという趣旨をより徹底して、共通に使える研究基盤の整備に努めるべき。○ 「治してください」という患者からの言葉を非常に重く受け止めている。難病の克服に向けた展開をどうするかという将来に向けて展望を持った施策の展開も、ぜひ考えていただきたい。	⑨ 疾患の克服に向けた研究を一層推進できるよう、難治性疾患克服研究事業の研究費の確保に努めることが望ましい。

- 極めて症状の重い難病の中に特定疾患として指定されないものがある現状を改善する必要がある。
- 研究事業という面からは、単に困っているだけでなく、未解決の度合いが強くて、かつ、今後の研究により解決の道筋が見えてくる疾患を選ぶべき。
- 新たな疾患の選定については検討した上で、慎重に決めていく必要がある。
- 現在の要件だけで判断しにくい場合は、より研究成果の期待できるものを選定するなど、疾患の選定前に基準を検討してはどうか。
- 新規の疾患を選定する際にも希少性を重視する必要があり、その後も継続的に評価する必要がある。

- ⑩ 新規に特定疾患治療研究事業及び難治性疾患克服研究事業の対象とする疾患について検討すべきであるとの意見があったことを踏まえ、今年度中に、特定疾患対策懇談会において、疾患の選定について議論を行うこととする。