

平成 22 年 8 月 30 日
厚生科学審議会 疾病対策部会
第 12 回 難病対策委員会 提出資料

難治性疾患対策について

厚生労働省健康局

難病対策の背景

- 昭和33年 スモン
 当時は原因が不明
 治療法未確立
 疾患に対する社会的不安
 スモンの方々の救済
- 昭和45年 「原因不明でかつ社会的にその対策を必要とする特定疾患については、全額公費負担とすべきである」(社会保険審議会答申)

- 昭和46年 スモン調査研究協議会がスモン入院患者に対して月額1万円(当時)を治療研究費より支出
- 昭和47年 スモン調査研究協議会の総括的見解
～「キノホルム剤の服用による神経障害」
- スモンの研究体制が他の難病に関する研究に対しても成功を収めることが可能ではないか。
- 昭和47年 国会において難病に関する集中審議
- 昭和47年 厚生省「難病対策要綱」
総合的な難病対策の指針

難病対策要綱(昭和47年厚生省)

<疾病の範囲>

○取り上げるべき疾病の範囲について整理

- (1)原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病
- (2)経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重く、また、精神的にも負担の大きい疾病

<対策の進め方>

- 1) 調査研究の推進
- 2) 医療施設の整備
- 3) 医療費の自己負担の解消



昭和47年 ○スモン、○ベーチェット病、○重症筋無力症、○全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、難治性肝炎 からスタート (○は医療費助成の対象)

特定疾患治療研究事業の概要 (いわゆる難病の医療費助成)

1. 目的

原因が不明であって、治療方法が確立していない、いわゆる難病のうち、治療が極めて困難であり、かつ、医療費も高額である疾患について医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図る。

2. 実施主体 都道府県

3. 事業の内容

対象疾患の治療費について、**社会保険各法の規定に基づく自己負担の全部又は一部に相当する額**の1/2を毎年度の予算の範囲内で都道府県に対して補助

4. 患者自己負担

所得と治療状況に応じた段階的な一部自己負担あり

上限額 入院 0~23,100円/月 外来等 0~11,550円/月

※対象者が生計中心者である場合は上記金額の1/2

5. 対象疾患

難治性疾患克服研究事業のうち臨床調査研究分野の対象疾患(130疾患)の中から、学識者から成る特定疾患対策懇談会の意見を聞いて選定しており、**現在、56疾患が対象**となっている。

6. 受給者証交付件数 647,604件(平成20年度末)

7. 予算額 平成22年度予算額:275億円

<参考>臨床調査研究分野の対象疾患

次の4要素(①~④)から選定し、現在、130疾患が対象となっている。

①希少性:患者数が有病率からみて概ね5万人未満の患者とする。

②原因不明:原因又は発症機序(メカニズム)が未解明の疾患とする。

③効果的な治療方法未確立

④生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)

自己負担限度額表

階 層 区 分		対象者別の一部自己負担の月額限度額		
		入院	外来等	生計中心者が患者本人の場合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	0	0	0
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	4,500	2,250	対象患者が生計中心者であるときは、左欄により算出した額の1/2に該当する額をもって自己負担限度額とする。
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	6,900	3,450	
D	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	8,500	4,250	
E	生計中心者の前年の所得税課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	11,000	5,500	
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	18,700	9,350	
G	生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	23,100	11,550	

- 備考：1. 「市町村民税が非課税の場合」とは、当該年度（7月1日から翌年の6月30日をいう。）において市町村民税が課税されていない（地方税法第323条により免除されている場合を含む。）場合をいう。
2. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
3. 災害等により、前年度と当該年度との所得に著しい変動があった場合には、その状況等を勘案して実情に即した弾力性のある取扱いをして差し支えない。
4. 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合の2人目以降の者については、上記の表に定める額の1/10に該当する額をもって自己負担限度額とする。

希少な難治性の疾患の数と研究事業について

希少な難治性の疾患

5,000–7,000疾患 (※1)

Aagaens syndrome
 Aarskog syndrome
 Aase Smith syndrome
 Aase syndrome
 ABCD syndrome
 Abderhalden-Kaufmann-Lignac syndrome
 Abdominal aortic aneurysm
 Abdominal chemodectomas with cutaneous angioliopomas
 Abdominal cystic lymphangioma
 Abdominal obesity metabolic syndrome
 Aberrant subclavian artery
 Abetalipoproteinemia
 Abidi X-linked mental retardation syndrome
 Ablepharon macrostomia syndrome
 Abrikosov's tumor
 Abruzzo Erickson syndrome
 Absence defect of limbs, scalp, and skull
 Absence of Gluteal muscle
 Absence of septum pellucidum
 Absence of Tibia
 Absence of tibia with polydactyly
 Absent abdominal musculature with microphthalmia and joint laxity
 Absent breasts and nipples
 Absent corpus callosum cataract immunodeficiency
 Absent duct of Santorini
 Absent patella
 Absent T lymphocytes
 Abuse dwarfism syndrome
 Acalvaria
 Acanthamoeba infection
 Acanthocheilonemiasis
 Acanthokeratoderma
 Acanthoma
 Acanthosis nigricans
 Acanthosis nigricans muscle cramps acral enlargement
 Acardia
 Acatalsasemia
 Accessory deep peroneal nerve
 Accessory navicular bone
 Accessory pancreas
 Aceruloplasminemia
 Acetylcarbitine deficiency
 Acetyl-coa acetyltransferase 2 deficiency
 Achalasia
 Achalasia Addisonianism Alacrimia syndrome
 Achalasia alacrimia syndrome

Achalasia microcephaly
 Achalasia, familial esophageal
 Achard syndrome
 Achard-Thiers syndrome
 Acheiropodia
 Achondrogenesis type 1A
 Achondrogenesis type 1B
 Achondrogenesis type 2
 Achondrogenesis, type 3
 Achondrogenesis, type 4
 Achondroplasia
 Achondroplasia and Swiss type agammaglobulinemia
 Achromatopsia 1
 Achromatopsia 2
 Achromatopsia 3
 Achromatopsia incomplete, X-linked
 Acidemia propionic
 Acidemia, isovaleric
 Acinic cell carcinoma
 Acitretin embryopathy
 Ackerman syndrome
 Acoustic neuroma
 Acquired agranulocytosis
 Acquired amegakaryocytic thrombocytopenia
 Acquired angioedema
 Acquired hypoprothrombinemia
 Acquired ichthyosis
 Acquired prothrombin deficiency
 Acquired pure megakaryocytic aplasia
 Acral dysostosis dyserythropoiesis
 Acral lentiginous melanoma
 Acro coxo mesomelic dysplasia
 Acrocallosal syndrome, Schinzel type
 Acrocephalopolydactyly
 Acrocephaly pulmonary stenosis mental retardation
 Acrodermatitis
 Acrodermatitis enteropathica
 Acrodysostosis
 Acrodysplasia scoliosis
 Acrofacial dysostosis ambiguous genitalia
 Acrofacial dysostosis atypical postaxial
 Acrofacial dysostosis Catania form
 Acrofacial dysostosis Preis type
 Acrofacial dysostosis Rodriguez type
 Acrofacial dysostosis, Nager type
 Acrofacial dysostosis, Palagonia type

Acrofrontofacionasal dysostosis syndrome
 Acrogeria, gottron type
 Acrokeratoelastoidosis of Costa
 Acromegaloid changes, cutis verticis gyrata and corneal leukoma
 Acromegaloid facial appearance syndrome
 Acromegaloid features, overgrowth, cleft palate, and hernia
 Acromegaloid hypertrichosis syndrome
 Acromegaly
 Acromelic frontonasal dysplasia
 Acromesomelic dysplasia Campailla Martinelli type
 Acromesomelic dysplasia Hunter Thompson type
 Acromesomelic dysplasia, Maroteaux type
 Acromicric dysplasia
 Acroosteolysis dominant type
 Acropectoral syndrome
 Acropectoral field defect
 Acropectorovertebral dysplasia
 Acrorenal mandibular syndrome
 Acrorenal syndrome recessive
 Acrosiroma
 ACTH deficiency
 ACTH resistance
 Actinic cheilitis
 Actinomycetales infection
 Acutane embryopathy
 Acute articular rheumatism
 Acute biphenotypic leukemia
 Acute cholinergic dysautonomia
 Acute disseminated encephalomyelitis
 Acute erythroblastic leukemia
 Acute erythroleukemia
 Acute fatty liver of pregnancy
 Acute hemorrhagic leukoencephalitis
 Acute idiopathic polyneuritis
 Acute intermittent porphyria
 Acute lymphoblastic leukemia
 Acute lymphoblastic leukemia congenital sporadic aniridia
 Acute megakaryoblastic leukemia
 Acute monoblastic leukemia
 Acute mountain sickness
 Acute myeloblastic leukemia type 1
 Acute myeloblastic leukemia type 2
 Acute myeloblastic leukemia type 3
 Acute myeloblastic leukemia type 4
 Acute myeloblastic leukemia type 5

特定疾患治療研究事業の対象疾患

- ・ライソゾーム病
- ・特発性間質性肺炎
- ・表皮水疱症
- ・筋萎縮性側索硬化症 (ALS) など

臨床調査研究分野(※2)の対象疾患

130疾患

- ・骨髄線維症
- ・側頭動脈炎
- ・フィッシャー症候群
- ・色素性乾皮症 など

研究奨励分野(※2)の対象疾患

177疾患 (H21)

214疾患 (H22)

※1 希少難病の定義は各国異なるため幅がある数値となっている。

※2 難治性疾患克服研究事業の一つの分野。

※3 それぞれの事業には、「希少」の基準を超える患者数5万人以上の疾病も含まれている。

特定疾患治療研究事業の対象疾患への追加に関する患者団体等からの要望一覧

疾患名	患者会等
von Hippel-Lindau病	von Hippel-Lindau病患者の会(通称:ほっとchain)
強直性脊椎炎	日本強直性脊椎炎友の会
RSD(反射性交感神経性ジストロフィー)	CRPS患者の会、かぼちゃの会
HAM	全国HAM患者友の会(アトムの会)
FOP(進行性骨化性線維異形成症、進行性化骨筋炎)	J-FOP～光～患者会
線維筋痛症	NPO法人線維筋痛症友の会
胆道閉鎖症	胆道閉鎖症の子どもを守る会
1型糖尿病	IDDM全国インターネット患者会iddm.21、近畿つぼみの会(小児期発症インスリン依存型糖尿病患者・家族会)
マルファン症候群	マルファンサポーターズ協議会
腹膜偽粘液腫	腹膜偽粘液腫患者支援の会
プラダー・ウィリー症候群	日本プラダー・ウィリー症候群協会
XP(色素性乾皮症)	全国色素性乾皮症(XP)連絡会
エーラス・ダンロス症候群	CTDサポーターズ協議会(旧マルファンサポーターズ協議会)
水疱型先天性魚鱗癬様紅皮症	魚鱗癬の会
非水疱型先天性魚鱗癬様紅皮症	魚鱗癬の会
シックハウス症候群	シックハウス連絡会
混合型血管奇形	混合型血管奇形の難病指定を求める会、混合型血管奇形の難病指定を求める議員連盟
フェニルケトン尿症	フェニルケトン尿症親の会・医療費助成委員会
シャルコー・マリー・トゥース病	シャルコー・マリー・トゥース病友の会(準備会)
軟骨無形成症	つくしの会
脳脊髄液減少症	特定非営利活動法人サン・クラブ
遠位型ミオパチー	遠位型ミオパチー患者会
慢性疲労症候群(CFS)	慢性疲労症候群友の会
小児交互性片麻痺	日本小児神経学会、日本てんかん学会
ラスマッセン症候群	日本小児神経学会、日本てんかん学会
慢性活動性EBウイルス感染症	慢性活動性EBウイルス感染症患者の親の会
アトピー性脊髄炎	アトピー性脊髄炎患者会
ジストニア	NPO法人ジストニア友の会
ポルフィリン症	全国ポルフィリン症代謝障害者患者会、民主党ポルフィリン症を考える会議員連盟
コケイン症候群	中標津町、日本コケイン症候群ネットワーク
腓膵胞線維症	腓膵胞線維症の治療環境を実現する会、腓膵胞線維症患者と家族の会
CAPS(クリオピリン関連周期性発熱症候群)	CAPS患者・家族の会

注1)平成22年3月末までに寄せられた要望をまとめたもの 注2)名称等により個人が特定される団体を除く。

難病対策に関する課題

1 医療費助成(特定疾患治療研究事業)における問題

① 対象疾患(医療費助成制度の「谷間」)

・難治性疾患

難治性疾患であって、特定疾患治療研究事業の対象疾患(56疾患)とならないものは、高額療養費制度以外の医療費軽減の仕組みがない。

一方で、難治性疾患の要件を満たしていない疾患の取扱いについても検討が必要。

・小児慢性特定疾患(キャリアオーバー問題)

小児慢性特定疾患治療研究事業の対象疾患(例:胆道閉鎖症など)であって特定疾患治療研究事業の対象とならないものについては、20才以降、医療費助成を受けることができない。

② 安定的な財源の確保

受給者増・医療費増が見込まれる中で本事業について十分な予算を確保できない状態が続いており、安定的な財源を確保できる制度の構築が課題。

③ 医療費助成事業の性格

希少疾患の症例確保を効率的に行うという研究事業でありながら、公費で医療費助成を行うという福祉的側面を有する本事業のあり方について、検討が必要。この際、保険制度等との関連も検討する必要。

(参考)

小児慢性特定疾患治療研究事業

- 小児慢性疾患のうち、小児がんなど特定の疾患については、その治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となることからその治療の確立と普及を図り、併せて患者家庭の医療費の負担軽減にも資するため、医療費の自己負担分を補助する制度。

事業の概要

- 対象年齢 **18歳未満の児童**（ただし、18歳到達時点において本事業の対象になっており、かつ、18歳到達後も引き続き治療が必要と認められる場合には、20歳未満の者を含む。）
- 補助根拠 児童福祉法第21条の5、第53条の2
- 実施主体 都道府県・指定都市・中核市
- 補助率 1/2（負担割合：国1/2、都道府県・指定都市・中核市1/2）
- 自己負担 保護者の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。ただし、重症患者に認定された場合は自己負担はなし。

沿革

- 昭和43年度から計上
- 昭和49年度 整理統合し4疾患を新たに加え、9疾患群からなる現行制度を創設。
- 平成2年度 新たに神経・筋疾患を加え、10疾患群とする。
- 平成17年度 **児童福祉法に基づく法律補助事業として実施するとともに、慢性消化器疾患群を追加し11疾患群とする。また、日常生活用具給付事業などの福祉サービスも実施。**



対象疾患

- ① 悪性新生物
- ② 慢性腎疾患
- ③ 慢性呼吸器疾患
- ④ 慢性心疾患
- ⑤ 内分泌疾患
- ⑥ 膠原病
- ⑦ 糖尿病
- ⑧ 先天性代謝異常
- ⑨ 血友病等血液・免疫疾患
- ⑩ 神経・筋疾患
- ⑪ 慢性消化器疾患

11疾患群(514疾患)
106,368人
※H20年度給付人数

すべて
入院・通院
ともに対象

小児慢性特定疾患治療研究事業における自己負担限度額表

階層区分	自己負担限度額	
	入院	外来
生活保護法の被保護世帯及び中国残留邦人等の円滑な帰国の促進及び永住帰国後の自立の支援に関する法律による支援給付受給世帯	0	0
生計中心者の市町村民税が非課税の場合	0	0
生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	2,200	1,100
生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	3,400	1,700
生計中心者の前年の所得税課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	4,200	2,100
生計中心者の前年の所得税課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	5,500	2,750
生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	9,300	4,650
生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	11,500	5,750

(備考)

1. 「市町村民税が非課税の場合」とは、当該年度(7月1日から翌年の6月30日をいう。)において市町村民税が課税されていない(地方税法第323条により免除されている場合を含む。)場合をいう。
2. この表の「所得税課税年額」とは、所得税法(昭和40年法律第33号)、租税特別措置法(昭和32年法律第26号)及び災害被害者に対する租税の減免、徴収猶予等に関する法律(昭和22年法律第175号)の規定によって計算された所得税の額をいう。ただし、所得税額を計算する場合には、次の規定は適用しないものとする。
 - (1) 所得税法第78条第1項、第2項第1号、第2号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。)、第3号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。)、第92条第1項、第95条第1項、第2項及び第3項
 - (2) 租税特別措置法第41条第1項、第2項及び第3項、第41条の2、第41条の3の2第4項及び第5項、第41条の19の2第1項、第41条の19の3第1項及び第2項、第41条の19の4第1項及び第2項並びに第41条の19の5第1項
 - (3) 租税特別措置法の一部を改正する法律(平成10年法律第23号)附則第12条
3. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
4. 災害等により、前年度と当該年度との所得に著しい変動があった場合には、その状況等を動案して実情に即した弾力性のある取扱いをして差し支えない。
5. 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合は、その月の一部負担額の最も多額な児童以外の児童については、上記の表に定める額の1/10に該当する額をもって自己負担限度額とする。
6. 前年分の所得税又は当該年度の市町村民税の課税関係が判明しない場合の取扱いについては、これが判明するまでの期間は、前々年分の所得税又は前年度の市町村民税によることとする。

自立支援医療制度の概要

- 根拠法
障害者自立支援法
- 概要
障害者（児）が自立した日常生活又は社会生活を営むために必要な心身の障害を除去・軽減するための医療について、医療費の自己負担額を軽減するための公費負担医療制度
- 対象者
 - ・ 更生医療：身体障害者福祉法第4条に規定する身体障害者で、その障害を除去・軽減する手術等の治療により確実に効果が期待できるもの（18歳以上）
 - ・ 育成医療：児童福祉法第4条第2項に規定する障害児（障害に係る医療を行わないときは将来障害を残すと認められる児童を含む。）で、その障害を除去・軽減する手術等の治療により確実に効果が期待できるもの（18歳未満）
 - ・ 精神通院医療：精神保健福祉法第5条に規定する精神疾患（てんかんを含む。）を有する者で、通院による精神医療を継続的に要するもの
- 対象となる障害と治療の例
 - 更生医療・育成医療
 - 肢体不自由・・・関節拘縮→人工関節置換術
 - 視覚障害・・・白内障→水晶体摘出術
 - 内臓障害・・・心臓機能障害→ペースメーカー埋込手術
 - 腎臓機能障害→腎移植、人工透析
 - 精神通院医療（精神疾患）：精神科専門療法、訪問看護
- 費用負担
1割負担を原則とするが、一部を除き、医療保険単位の世帯ごとの所得（市町村民税の課税状況等）等に応じ、月ごとの負担に上限額が設けられている。
また、重度かつ継続（費用が高額な治療を長期間にわたり継続しなければならない者の場合）については、更に、月ごとの負担の上限額の軽減措置を実施。
※ 自立支援医療は保険優先のため、実際は、保険支払後の（一般の方であれば3割の）自己負担との差額分を自立支援医療制度において負担。
※ 平成22年度予算額 1, 954億円（負担割合：国1／2、都道府県等1／2）