

資料目次

資料 1	難病の定義、範囲の在り方	1
資料 2	医療費助成の在り方	2
資料 3	難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方	4
資料 4	難病研究の在り方	7

難病の定義、範囲の在り方

「難病」の定義、範囲に関する論点として、以下の事項が考えられるのではないか。

(1) 「難病」の定義

- 難病対策として取り上げるべき疾病の範囲については、「難病対策要綱」(昭和47年10月厚生省)において、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との整理が示されている。

一方、特定疾患の定義については、「今後の難病対策の在り方について」(中間報告)(平成14年8月23日厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会)において、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、②原因不明、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)の4要素が示されている。

両者を比較した場合、いわゆる希少性の要件について差が見られるが、どう考えるか。

- 「難病」の範囲(外縁)を明確化するためには、国内学会等で承認された診断基準が一応確立している等、疾患概念が明らかであることが必要ではないか。

(2) 障害者総合支援法案との関係

- 現在国会審議中の「地域社会における共生の実現に向けて新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律案」では、障害者の範囲に、難病等により障害がある者が加えられ、障害者総合支援法案の第4条第1項において、「治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者であって十八歳以上であるもの」が新たに規定されることとなっている。

難病対策における「難病」の定義と、この政令で定める疾病の範囲との関係をどう考えるか。

医療費助成の在り方

1. 医療費助成を行う考え方

(1) 現行の特定疾患治療研究事業の目的

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、特定疾患については、治療がきわめて困難であり、かつ、その医療費も高額であるので、特定疾患治療研究事業を推進することにより、特定疾患に関する医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図ることを目的とする。

(参考) 特定疾患医療受給者証（裏面）

厚生労働科学研究難治性疾患克服研究事業（臨床調査研究分野）の対象疾患のうち、診断基準が一応確立し、かつ、難治度及び重症度が高く、さらに、患者数が比較的少ない疾患について公費負担により受療を促進することによって、その原因を究明し、もって治療方法の開発等に資することを目的としています。

(2) 検討すべき課題

○ 「難病」は、発症する確率は非常に低いものの、国民の誰もが発症する可能性がある。

また、「難病」は症例数が少なく、各医療機関・研究機関の個別の研究に委ねては必要な症例が不足し、その原因の究明、治療方法の開発等に困難をきたすおそれがある。

こうした観点から、医療費助成を行うことにより患者の受療を促進するとともに、治療研究を推進する観点から、希少な症例の全国的なデータの集積を行うことについてどう考えるか。【社会的・公共的な側面】

○ 希少な症例の全国的なデータの集積を行う観点から見た場合、現行のように原則として対象疾患の患者すべてに医療費助成を行うことについてどのように考えるか。

○ 上記のような考え方を採る場合、希少性の要件は必須となるが、その際、平成9年3月に出された「特定疾患対策懇談会 特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告」において、国内の患者数が概ね5万人未満を目安とすることが適当という考え方が示されていることについて、どう考えるか。

- 米国及び欧州における「希少疾患」の「希少性」の判断基準からすれば、「国内の患者数が概ね5万人未満」という我が国の基準は、適当なのか。
- 医療費助成とその他の施策において希少性の要件に差を設けることは考えられるか。
- 他方、「難病」に罹患した患者の中には重篤かつ慢性の症状に苦しみ、治療法が未確立のため、その治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となっている者が存在する。
このため、一般的な高額療養費制度だけでは十分な負担軽減を図ることができず、医療費助成により患者の医療費の更なる負担軽減を図ることについてどう考えるか。【福祉的な側面】
- 高額となる医療費の負担軽減の観点から見た場合、がんなど他の慢性疾患と比較して難病についてのみ、医療費助成することについてどのように考えるか。

2. 医療費助成の基本的枠組み

<検討すべき課題>

- 公平性の確保の観点から、「難病」の定義、範囲に関する基本的な考え方を踏まえつつ、現行のように医療費助成の対象疾患を絞り込むのではなく、一定の基準（例えば、重症度）に基づき対象患者を認定することについてどう考えるか。その際、小児慢性特定疾患治療研究事業との関係についてどう考えるか。
- 公正性の確保の観点から、認定の適正化を行う必要があるが、どのような仕組みが考えられるか。例えば、あらかじめ指定された専門医の診断を要件とすることや指定医療機関での受診とすることについてどう考えるか。また、疾患ごとの治療ガイドラインを策定することにより治療の標準化を行うことについてどう考えるか。
- 他制度との均衡の確保の観点から、給付水準（公費で負担される額）の見直しを検討することについてどう考えるか。

<主な検討事項>

- ・ 入院時食事療養費、入院時生活療養費
- ・ 薬局での保険調剤
- ・ 対象患者が負担する一部負担額（高額所得者、重症患者の取扱い）

難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方

<検討すべき課題>

(1) 新・難病医療拠点病院の設置

- 現行の、重症難病患者の入院施設の円滑な確保のため設置されている「難病医療拠点病院」制度に代わり、難病に係る診断、治療等の医療の質や専門医の分布にばらつきがあることから、難病医療の質の確保のため、概ね全ての難病に対し総合的な高度専門医療を提供することができる医療機関として、原則、都道府県に一カ所、「新・難病医療拠点病院」を設置してはどうか。
- 特に希少な疾患については、患者に対して適確な診断、治療を行うためには拠点化が必要ではないか。
- さらに、新・難病医療拠点病院と連携し、(二次医療圏を念頭とした)地域の難病医療の提供、関連施設(病院、診療所、介護施設等)との連携や在宅療養サービス提供医療従事者への人材養成等を担う「難病医療地域基幹病院(仮称)」も併せて整備する必要があるのではないか。

<新・難病医療拠点病院の役割として考えられる主な事項>

- ・ 各都道府県における適切な難病医療(診断含む)の提供
- ・ 病診連携の要として、他の医療機関からのコンサルトへの対応
- ・ 難病医療に携わる人材の養成(難病の専門医師、看護師等)
- ・ 治療法の研究開発の推進
- ・ 難病患者登録の実施
- ・ 難病医療専門相談(遺伝子診断、遺伝カウンセリング、セカンドオピニオン等)
- ・ 県内の難病患者の入院調整を行う難病医療専門員の配置

(2) 地域における難病の治療連携の推進

- 地域における難病医療の均てん化を図るため、専門医と地域の家庭医の役割分担を明確化して、治療連携をすべきではないか。
- そのためには、研究班、学会等の成果を活用して、疾患毎の標準的な検査・治療ガイドラインを定期的に作成・普及することも必要ではないか。
- 地域で生活する難病患者が、医療、福祉、介護サービス等を円滑に利用できるよう、難病医療地域基幹病院(仮称)を中心として、二次医療圏毎に、地域難病医療連絡協議会(仮称)を設置してはどうか。
- 地域難病医療連絡協議会(仮称)には、拠点病院や家庭医、福祉、介護サービス事業者等との調整窓口として、難病医療専門員を難病医療地域基幹病院(仮称)に配置してはどうか。

(3) 在宅難病患者への支援の充実

- 在宅で療養する難病患者が、訪問看護・介護等の制度を、より適切に利用できるよ
うに検討を進める必要があるのではないか。(詳細は難病在宅看護・介護等WGで議
論)
- 地域で生活する難病患者が、医療、福祉、介護サービス等を円滑に利用できるよう、
難病医療地域基幹病院〈仮称〉を中心として、地域難病医療連絡協議会〈仮称〉を設
置してはどうか。(再掲)

(4) 難病治療研究センター〈仮称〉の設置

特に極めて希少な疾患については、全国的にも患者数が数名と言う場合もあり、国と
して、これら希少疾患に対し、高度専門的な対応ができるセンターを設置してはどうか。

<センターの役割として考えられる主な事項>

- ・ 国内における最高峰の難病治療研究の実施・推進
- ・ 各難病医療拠点病院等のバックアップ機能(医療相談、照会等への対応)
- ・ 難病に関する全国の治験情報の発信
- ・ 難病研究の国際的な連携の拠点

(5) 難病患者登録の実施

- 難病患者の発症状況や長期予後の把握、治療効果の評価等を行い、難病医療の質を
高めるため、医療研究機関を主体とした、難病患者登録を実施してはどうか。
- 現行の臨床調査個人票は精度に問題があるため、これを廃止し、国内、国際的な治
験等治療法の開発研究に資する水準の新たな難病患者登録制度とし、難病医療拠点病
院〈仮称〉で、登録を実施してはどうか。
- 登録データを分析した結果について、関係者に広く公表する仕組みを構築すべきで
はないか。

難病研究の在り方

＜現状＞

○現行の難治性疾患克服研究事業の構成について

- 臨床調査研究分野・・特定疾患対策懇談会で指定された要件を満たす疾患に対する研究
- 研究奨励分野・・臨床調査研究分野に属さない希少疾患に対する研究
- 重点研究分野・・個別疾患で新たな医薬品等の実用化を実施する研究
- 横断的基盤研究分野・・疾患共通の基盤となる研究 例：研究資源、患者レジストリ等
- 指定研究分野・・政策的研究 例：ヤコブ病、スモン等

＜検討すべき課題＞

(1) 難病医療研究の対象について

- 研究の対象については、幅広く全ての希少・難治性疾患を対象とすべきではないか。
- 臨床調査研究分野と研究奨励分野の区分けについてどのように考えるか。

(2) 難病医療研究の重点化について

- 難病医療研究の最終目標として、治療法開発、創薬を重点的に目指すべきではないか。
- 効果的な創薬につなげるため、研究費の適正な評価と重点投資が必要ではないか。
- 効果的な臨床研究から治験に移行するため必要な施策はどのようなものか。

(3) 総合的な難病研究の実施について

- 関係者、関係各省等が一体となった難病研究開発の総合戦略が必要ではないか。
- 難病患者が治験を含めた研究に参加しやすくなるような仕掛けが必要ではないか。
- 製薬企業等が難病医薬品開発に積極的に参加しやすくなるための環境整備としてどのようなものが必要か。

(4) 研究成果等の還元について

- 研究の進捗状況、成果を、患者、国民にわかりやすく伝えることが必要ではないか。
- 患者にとって、研究成果が還元されていることを実感できるような仕組みはどのようなものか。

(5) 難病研究の国際連携の在り方について

- EUオーファネット、米国CDCとの連携が必要ではないか。
- 創薬、患者団体支援の観点からも、国際共同が必要でないか。