

参考資料 目次

| | |
|------------------------------|----|
| ・ 難病を持つ子どもへの支援の在り方に係る参考資料 | 1 |
| ・ 難治性疾患の定義について | 13 |
| ・ 社会保障・税一体改革大綱（抄） | 17 |
| ・ 今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）（抄） | 18 |

難病を持つ子どもへの支援の在り方 に係る参考資料

小児慢性特定疾患治療研究事業の概要

- 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。このため、児童の健全育成を目的として、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14年度 「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」の報告書とりまとめ。
- 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)

※H22年度給付人数

108,790人

※H22年度総事業費

251億円

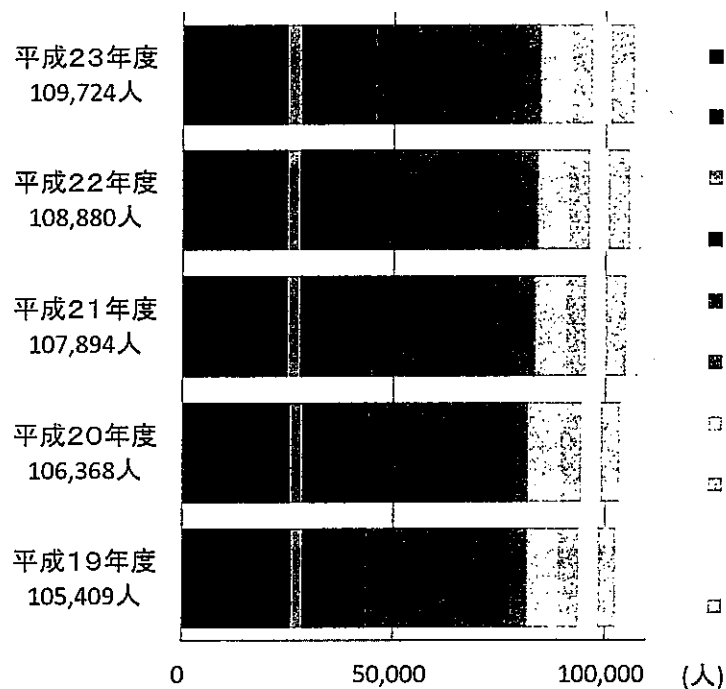
すべて
入院・通院
ともに対象

小児慢性特定疾患の対象者数について

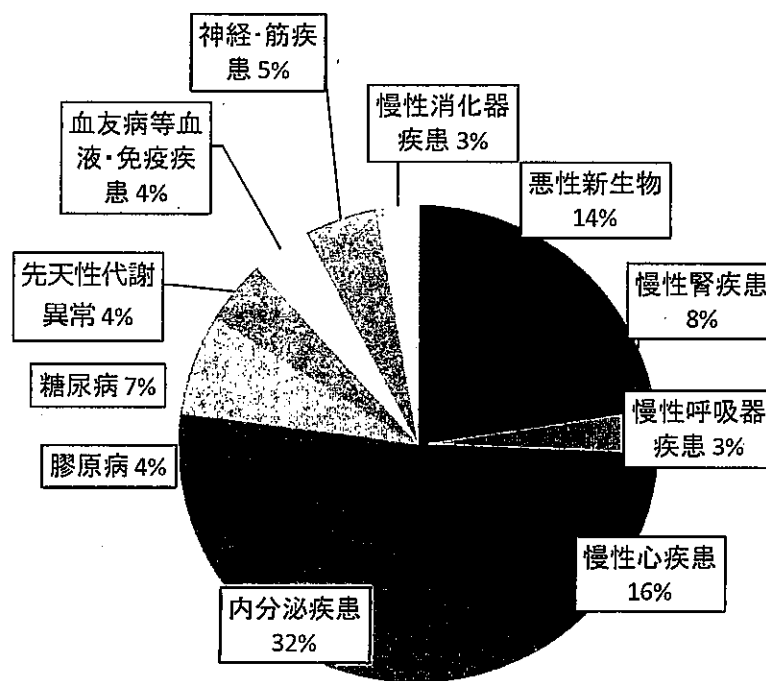
小児慢性特定疾患治療研究事業は、11疾患群514疾病を対象としており、当事業の給付人員は過去5年間で微増し、平成23年度は約10万9千人である。

疾患群別では内分泌疾患(32%)、慢性心疾患(16%)、悪性新生物(14%)が多い。

疾患群別給付人員の推移



疾患群別対象者数(平成23年度)

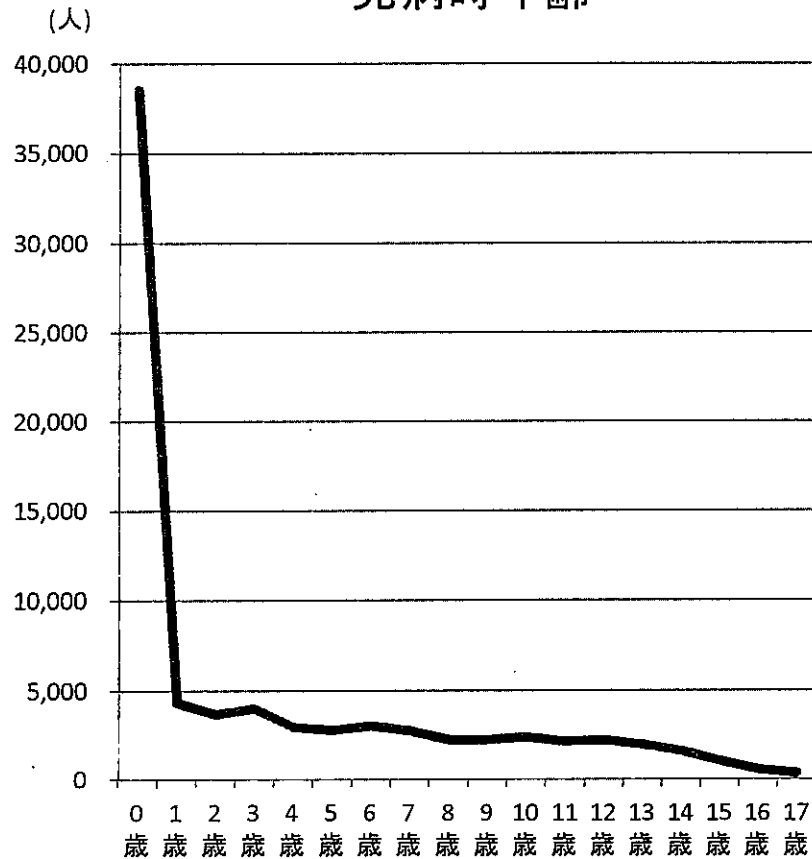


出典：厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課調べ

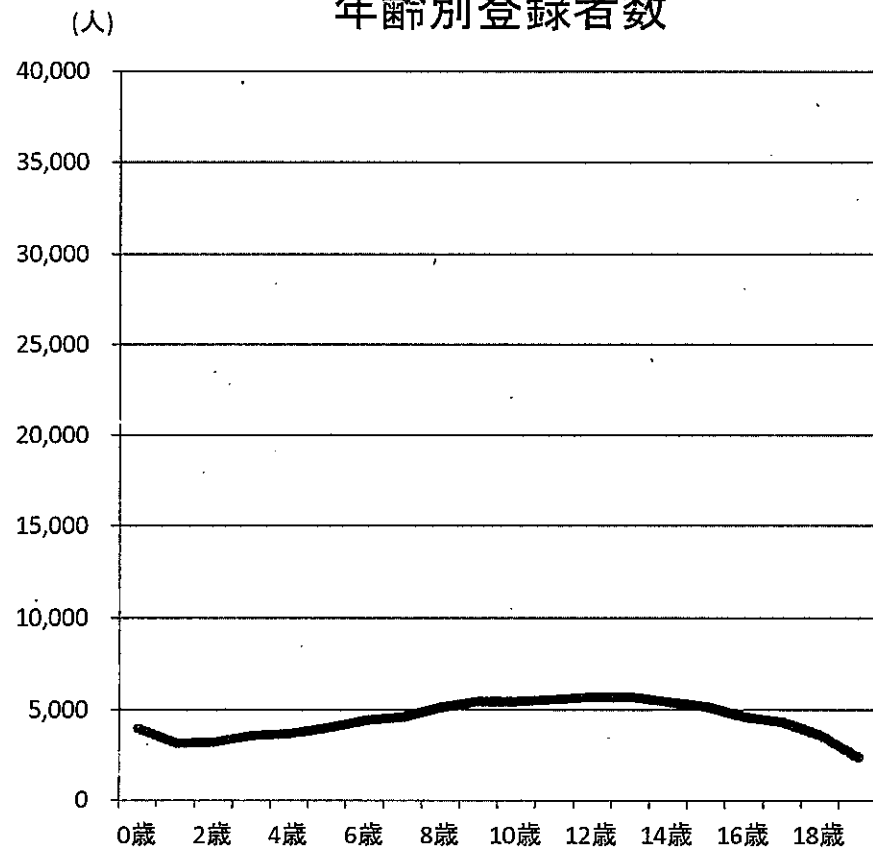
小児慢性特定疾患対象者(全体)の発病時及び現在の年齢

発病時年齢は0歳に大きなピークがあり、1歳以降は減少傾向にある。
年齢別の分布では、0歳と10代前半にピークがある。罹患期間が長期にわたることが推測される。

発病時年齢



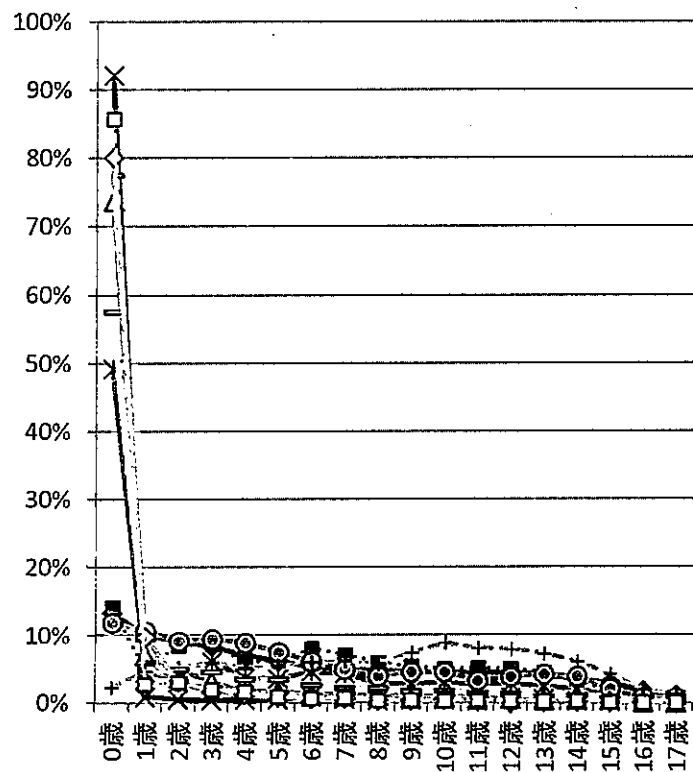
年齢別登録者数



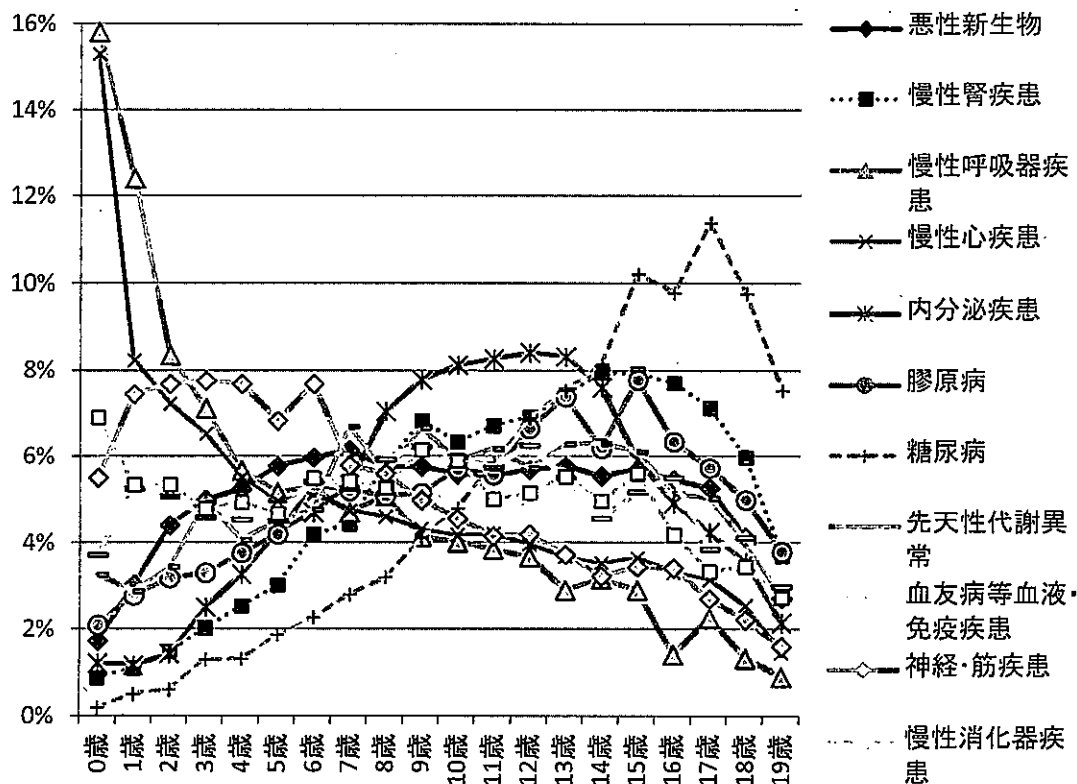
疾患群ごとの、発病時及び現在の年齢

0歳にほとんどが発症し、乳幼児の患者が主体である疾患(慢性心疾患、慢性呼吸器疾患)、0歳に多くが発症し、各年齢に患者の見られる疾患(血液・免疫疾患、神経・筋疾患等)、各年齢で発症がみられ、10歳代半ばから後半の患者が多い疾患(悪性新生物、糖尿病等)など疾患群により特徴があるが、罹患期間が長期にわたると推測されるものが多い。

疾患群別発病時年齢



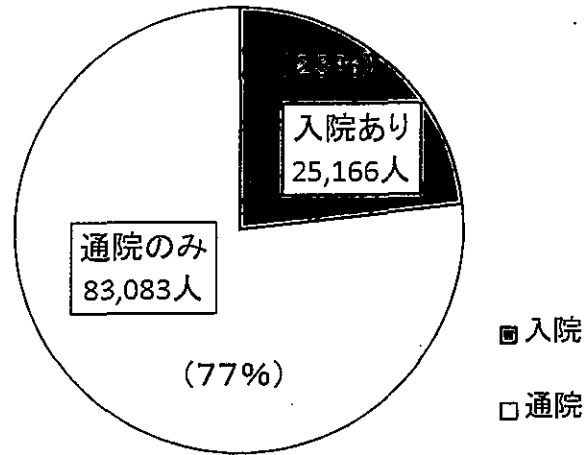
疾患群別登録者の年齢分布



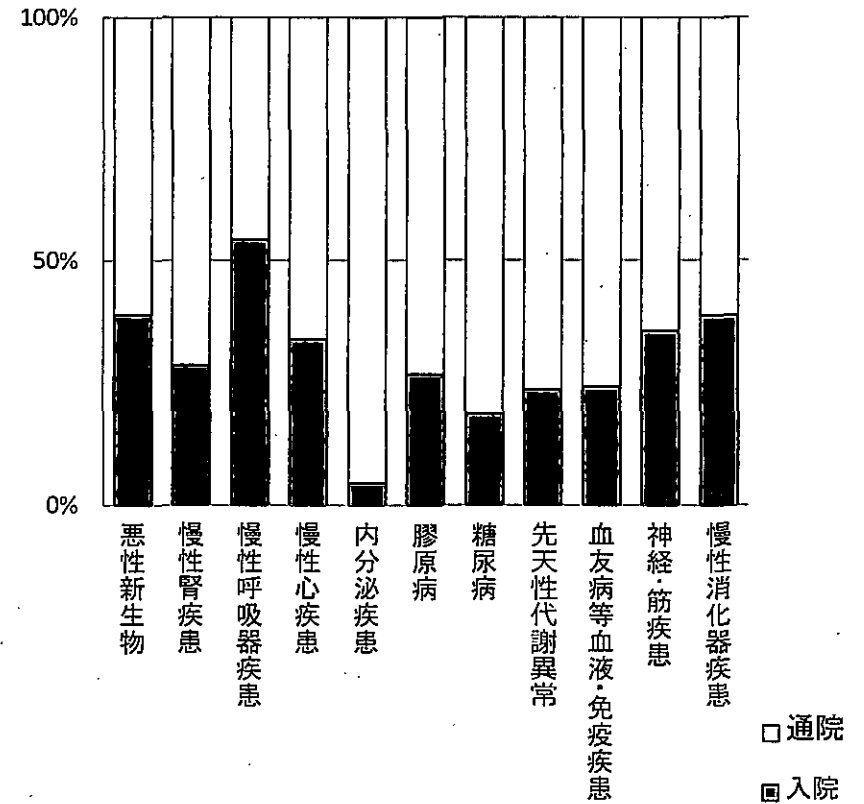
小児慢性特定疾患の入院・通院について

対象者のうち、23%は一年間のうちに入院により治療を受けている。

小児慢性特定疾患児全体の入院と通院の割合



疾患群別の入院・通院の割合



出典：厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課調べ

入院とは、平成22年度に入院実績のある者の人数であり、
通院とは、平成22年度に入院せず通院のみの人数。
入院と通院実績がある場合は入院に計上している。

難病患児の状況に関する資料

アミノ酸代謝異常症の知的予後(*1)

| | | 知的予後不良 | 知的予後良好 |
|-------------|---------|--------|--------|
| フェニルケトン尿症 | (N=319) | 6.0% | 94.0% |
| ビオプテリン欠乏症 | (N=6) | 16.7% | 83.3% |
| 高フェニルアラニン血症 | (N=54) | 1.9% | 98.1% |
| メープルシロップ尿症 | (N=34) | 26.5% | 73.5% |
| ホモシスチン尿症 | (N=32) | 15.6% | 84.4% |

West症候群の精神遅滞(N=3100)(*2)

| | |
|--------|-------|
| 精神遅滞なし | 18.1% |
| 精神遅滞あり | 82.0% |
| 軽度 | 16.1% |
| 中等度 | 19.4% |
| 重度 | 35.1% |
| 重症度不明 | 11.4% |

結節性硬化症の精神・行動上の問題(*1)

精神遅滞(N=1004)

| | |
|-------|-------|
| なし | 28.3% |
| あり | 71.6% |
| 軽度 | 18.6% |
| 中等度 | 20.1% |
| 重度 | 25.8% |
| 重症度不明 | 6.9% |

自閉傾向(N=947)

| | |
|----|-------|
| なし | 78.2% |
| あり | 21.8% |

多動(N=771)

| | |
|----|-------|
| なし | 85.5% |
| あり | 14.5% |

慢性呼吸器疾患の治療状況(*2)

中枢性無呼吸症候群(3年以上継続登録症例、N=43)

| | |
|---------|-------|
| 人工呼吸器あり | 65.1% |
| 気管切開あり | 37.2% |

慢性肺疾患(3年以上継続登録症例、N=143)

| | |
|---------|-------|
| 人工呼吸器あり | 22.4% |
| 気管切開あり | 37.8% |
| 酸素投与あり | 72.0% |

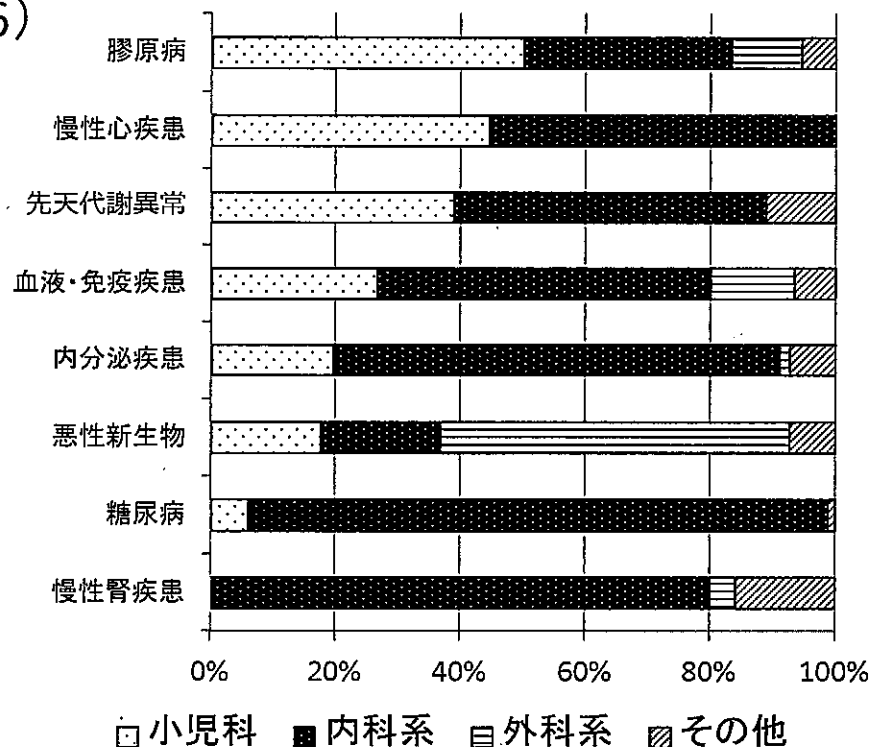
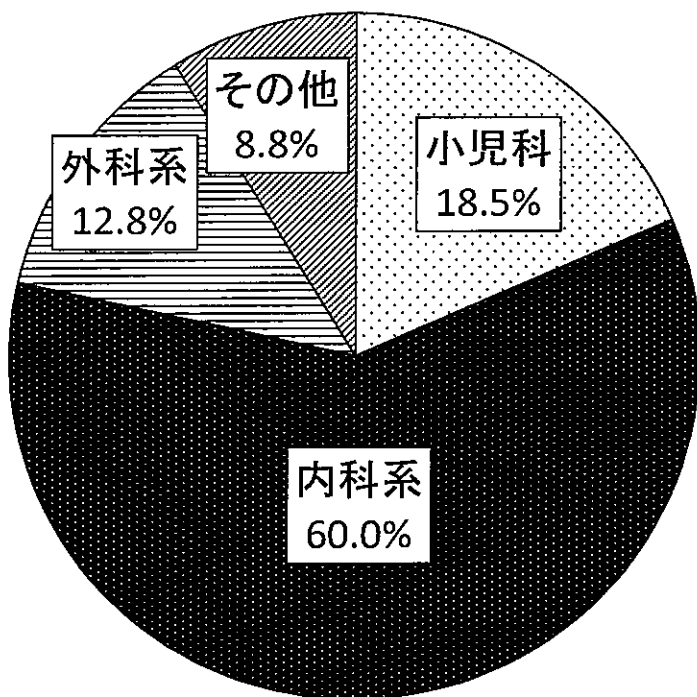
出典(*1)平成22年度厚生労働科学研究費「小児慢性特定疾患の登録・管理・解析・情報提供に関する研究」

(*2)平成21年度厚生労働科学研究費「法制化後の小児慢性特定疾患の登録・管理・解析・情報提供に関する研究」

20歳を超えた患者の、主な通院先(診療科)

小児慢性特定疾患治療研究事業を利用していた20歳を超える患者の主な診療先(診療科)は、全体では内科系が6割を超える一方、18%は小児科であった。
疾患群別にみると、膠原病、慢性心疾患、先天代謝異常については、約40%が小児科であった。

主要な通院医療施設の診療科(n = 396)



鹿児島県及び宮崎県に居住し、昭和60年から平成16年の間に小慢事業への申請のあった者のうち平成18年の時点で20歳を超えている患者を対象とした調査票調査(回収率34.0%)。上のグラフは、医療機関を定期受診している396人(回答者の75.9%)についての集計結果。

| 調査時年齢 | |
|--------|-------|
| 20-29歳 | 72.0% |
| 30-39歳 | 27.7% |
| 40歳以上 | 0.4% |

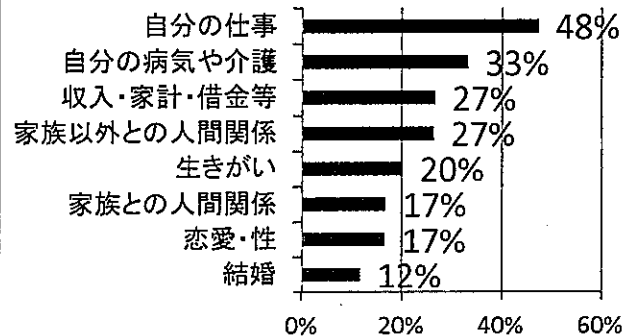
小児慢性特定疾患治療研究事業受給者であった20歳以上の患者の、
就労・制度利用等の状況

(出典)平成23年度厚生労働科学研究費
「小児慢性特定疾患のキャリアオーバー患者の実態とニーズに関する研究」

全国640施設の20歳以上移行者6356人のうち、839人の患者又は家族のアンケート結果

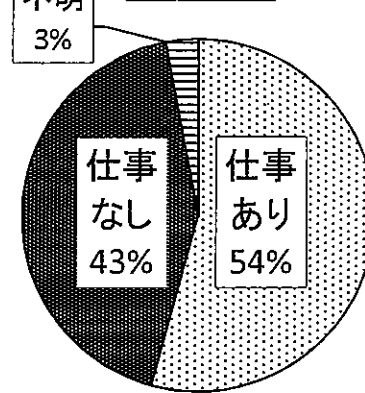
生活・就労について

ストレスや悩みの原因

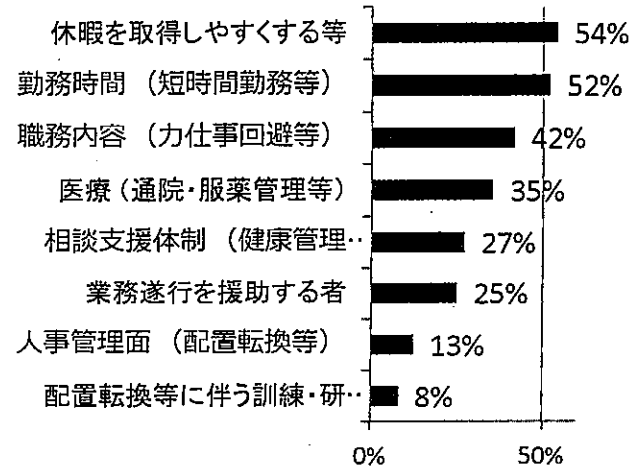


約半数が仕事の悩みを抱えている

就労状況



雇用先に必要であった配慮



未就労者の状況

| 仕事をしていない理由 (n=359) | |
|-----------------------|-----------|
| 働く必要なし(学生、主婦等) | 145人(40%) |
| 症状が重く就労は困難 | 55人(15%) |
| 求職活動したが就職不可 | 39人(11%) |
| 求職活動支援制度の利用 (n=39) | |
| 利用した | 10人(26%) |
| 利用していない | 24人(62%) |
| 求職活動支援を利用しない理由 (n=24) | |
| 利用の対象とならない | 6人(25%) |
| 利用する必要がない | 6人(25%) |
| 必要とする求職活動支援がない | 1人(4%) |

手帳・医療費助成について

手帳の所有について

| | 手帳の所有あり |
|-------------|---------|
| 身体障害者手帳 | 31% |
| 療育手帳 | 15% |
| 精神障害者保健福祉手帳 | 1.2% |

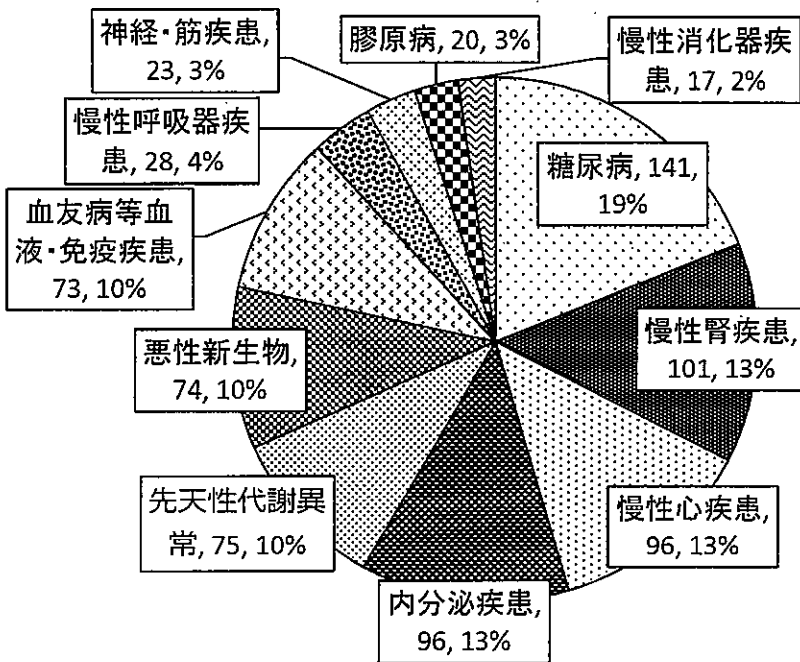
(重複あり。小慢疾患と無関係も含む。)

医療費助成受給状況

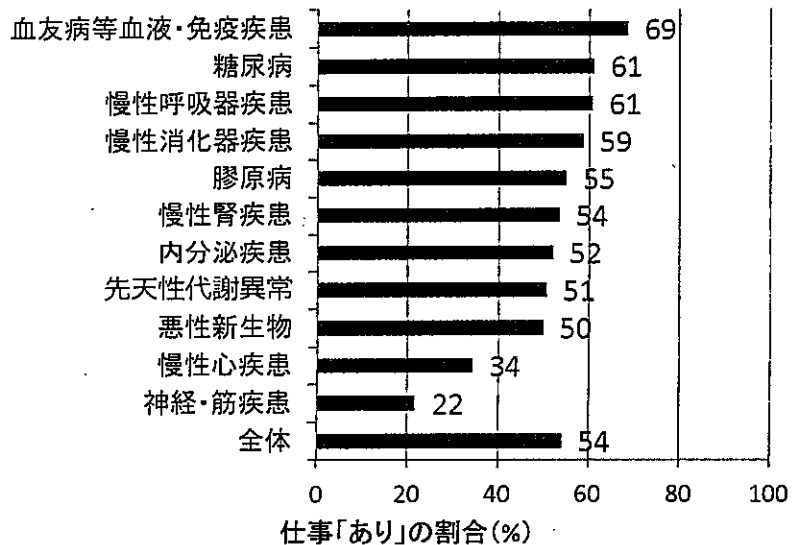
| 医療費助成の受給 (n=839) | |
|------------------|-----------|
| 受給していない | 495人(59%) |
| 受給している | 227人(27%) |
| わからない・不明 | 117人(14%) |

| 受給している (n=227) | |
|----------------|-----------|
| 難病(特定疾患) | 124人(55%) |
| 自立支援医療(更生医療) | 20人(9%) |

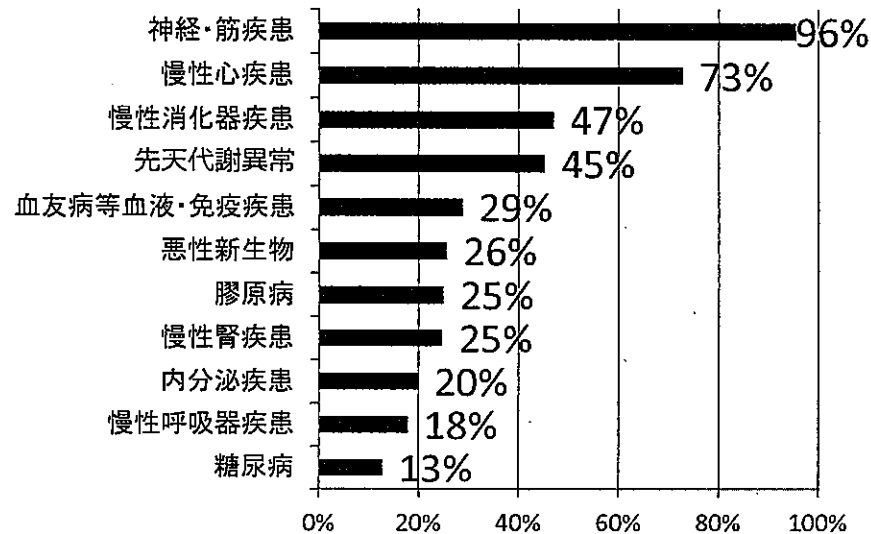
疾患群別の患者数、割合



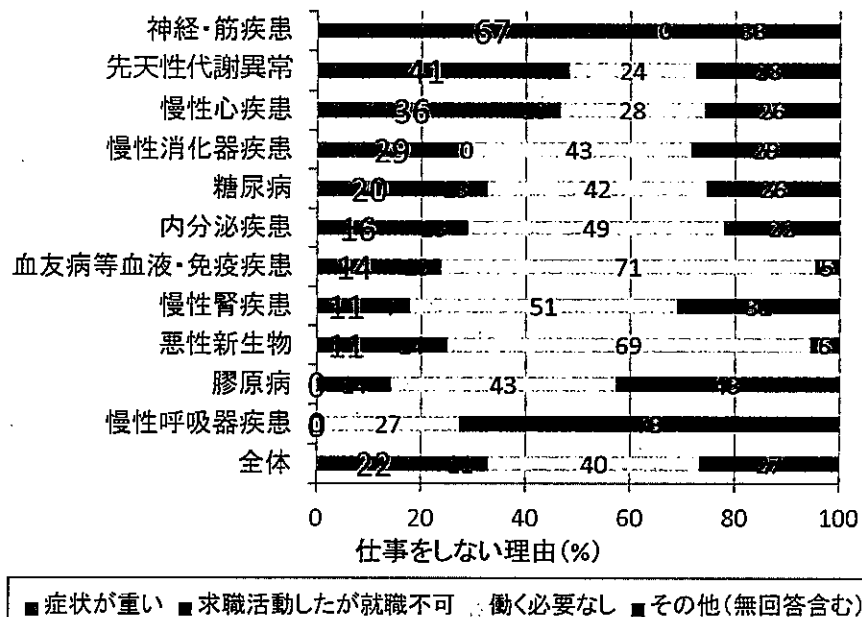
疾患群別の就労状況



疾患群別の身体障害者手帳所有率



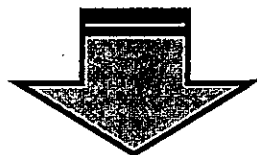
疾患群別にみた、仕事をしない理由



慢性疾患のある子どもとその家族の多様な課題と要望

慢性疾患のある子どもとその家族の要望を、検討会で患者団体12団体から聴取した結果、「より良い医療」、「安定した家庭」及び「積極的な社会参加」、を実現することに集約された。

- (1) より良い医療：より良い医療を受け、可能な限り治癒・回復を図ること
 - ・小児医療は、治療技術の進歩が目覚ましい分野であるが、今後も、さらなる研究の推進、診療の向上によって、より良い医療を実現することが必要である。
- (2) 安定した家庭：家族がまとまりながら慢性疾患のある子どもを支えつつ、家族全員がそれぞれの人生を充実して送ること
 - ・家庭で療養を続ける慢性疾患のある子どものケアは、家族がその大部分を担っているため、家庭が安定することは、慢性疾患のある子どもが心配なく療養を続けるために欠かせない。一方、子どもが病気になることは、親やきょうだいの家族関係や職場における状況といった社会との関係にも影響を与えるため、ケアの負担軽減や家族の支援等が要望されている。
- (3) 積極的な社会参加：慢性疾患のある子どもの教育や就職等の社会参加を全うすること
 - ・本来、持って生まれた能力の可能性を十分に発揮し、させたいという要望又は社会に参加したいという要望は強く、本人の能力や必要なケアなどの状況に応じて、これらが十分に行われるよう支援することが必要。



これらの要望を実現するためには、様々な活動主体が、協働することが必要。

行政、医療機関、民間による社会支援活動、慢性疾患のある子どもと家族、患者家族会、民間支援団体等による協働が必要であり、これらの活動主体には、今後も大きな役割を担うことが期待される。

特定疾患治療研究事業と小児慢性特定疾患治療研究事業の関係

小児慢性特定疾患 514疾患, 10.9万人(給付人員)

難病(医療費助成あり) 56疾患のうち19歳以下の患者 1.2万人(総数の1.8%)

小児慢性特定疾患で登録数の多い疾患

*難病で患者数の多い主な疾患

*難病で小慢と重複する疾患
15疾患, 1832人(小慢登録は15,240人)

| | |
|------------------|--------|
| 【0~9歳】 | 1,699人 |
| ・モヤモヤ病 | 377人 |
| ・特発性血小板減少性紫斑病 | 226人 |
| ・重症筋無力症 | 163人 |
| ・再生不良性貧血 | 130人 |
| ・強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎 | 105人 |

| | |
|---------------|---------|
| 【10~19歳】 | 10,850人 |
| ・潰瘍性大腸炎 | 2,906人 |
| ・モヤモヤ病 | 1,361人 |
| ・クローン病 | 1,355人 |
| ・全身性エリテマトーデス | 1,156人 |
| ・特発性血小板減少性紫斑病 | 626人 |

*平成22年度 衛生行政報告例 第67表
特定疾患(難病)医療受給者証所持者数より抜粋

| | |
|-----------------------|----------------------|
| | ()内は小慢登録人数 |
| ・特発性血小板減少性紫斑病 | 852人(571人) |
| ・間脳下垂体機能障害 (7疾患) | 311人(12,747人) |
| ・原発性免疫不全症候群 | 256人(754人) |
| ・特発性拡張型心筋症 | 108人(71人) |
| ・表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型) | 108人 (致死性表皮水疱症2人) |
| ・肺動脈性肺高血圧症 | 68人(149人) |
| ・ライソゾーム病 | 50人(311人) |
| ・ミトコンドリア病 | 27人(188人) |
| ・肥大型心筋症 | 20人(272人) |
| ・亜急性硬化性全脳炎 | 14人(23人) |
| ・副腎白質ジストロフィー | 8人(66人) |
| ・バッド・キアリ症候群 | 4人(門脈圧亢進症41人) |
| ・重症多形滲出性紅斑(急性期) | 4人(19人) |
| ・拘束型心筋症 | 2人(16人) |
| ・家族性高コレステロール血症(ホモ接合体) | 0人(10人) |

| | |
|----------------------|---------|
| ・成長ホルモン分泌不全性 低身長症 | 11,783人 |
| (難病「間脳下垂体機能障害」と重複) | |
| ・クレチン症 | 5493人 |
| ・1型糖尿病 | 4712人 |
| ・白血病 | 4526人 |
| ・甲状腺機能亢進症 | 3473人 |
| ・ウエスト症候群 | 2446人 |
| ・ネフローゼ症候群 | 2304人 |
| ・ファロー四徴症 | 2046人 |
| ・胆道閉鎖症 | 2019人 |
| ・心室中隔欠損症 | 1976人 |

平成23年度 小児慢性特定疾患の登録・
管理・解析・情報提供に関する研究より
抜粋

難治性疾患の定義について

I 難病対策要綱（昭和47年10月）〈抜粋〉

いわゆる難病については、従来これを統一的な施策の対策としてとりあげていなかったが、難病患者のおかれている状況にかんがみ、総合的な難病対策を実施するものとする。

難病対策として取り上げるべき疾病の範囲についてはいろいろな考え方があるが、次のように整理する。

- (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
(例：ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス)
- (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（例：小児がん、小児慢性腎炎、ネフローゼ、小児ぜんそく、進行性筋ジストロフィー、腎不全（人工透析対象者）、小児異常行動、重症心身障害児）

対策の進め方としては、次の三点を柱として考え、このほか福祉サービスの面にも配慮していくこととする。

- 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

なお、ねたきり老人、がんなど、すでに別個の対策の体系が存するものについては、この対策から、除外する。

(※) 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) ※昭和49年の受給者数(対象10疾患)は17,595人

II 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会最終報告

(平成7年12月27日)〈抜粋〉

2 今後の特定疾患対策の基本的方向

- (1) 特定疾患対策の重点的かつ効果的な施策の充実と推進を図るため、①希少性、②原因不明、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)、という4要素に基づき対象疾患として取り上げる範囲を明確にすることが必要である。

Ⅲ 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（平成9年3月19日）〈抜粋〉

調査研究事業対策疾患の選定基準

① 希少性

患者数が有病率から見て概ね5万人未満の疾患とする。

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

完治に至らないまでも進行を阻止し、又は発症を予防し得る手法が確立されていない疾患とする。

④ 生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）

日常生活に支障があり、いずれは予後不良となる疾患或いは生涯にわたり療養を必要とする疾患とする。

⑤ その他

がん、脳卒中、心臓病、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神疾患などのように別に組織的な研究が行われているものについては、効率的な研究投資の観点から従来のおり本調査研究事業から除くべきである。

IV 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・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）〈抜粋〉

3. 今後の治療研究事業の在り方について（費用負担を含む）

（1）事業の性格について

治療研究事業は、医療費助成を行うことできわめて患者数の少ない疾患について多くの症例を得ることが可能となり、対策研究事業と相まって研究の推進に非常に効果的であったという指摘がある一方で、本事業の対象疾患と同様に経済的、精神的な負担を抱えるがん等の対象外の疾患に罹患している患者からは不公平感がぬぐえないという指摘もある。

医療については、国民皆保険の下、原則全国民を対象として疾病の区別なく一定の負担と給付を行う公的医療保険制度が整えられている。また、医療保険制度においては、さらに高額療養費制度など経済的負担の軽減を図る施策も設けられている。医療費の公費負担を行う制度は、特定の政策的目的のために医療保険制度に上乗せを行うものであり、例えば福祉施策としての「生活保護における医療扶助」「更生医療」「療育医療」「育成医療」などが挙げられる。

これに対し「治療研究事業」は、患者の医療費負担の軽減という福祉的な側面を持つものの、その主たる目的は難治性の疾患を克服するための研究体制の整備にある。「2. 今後の特定疾患研究の在り方について」に示したように、特定疾患の治療成績は年々向上しているものの、未だに研究推進の必要性を残していることや、新たな難治性疾患に対して同様な対応を行う必要があることを踏まえれば、治療研究事業は、今後も研究事業としての性格を維持した上で、事業の性格付けを行うことが適当であるが、特定疾患を対象に医療費の公費負担を行う事業としての考え方も明確に整理する必要がある。併せて、前述の研究の在り方でも示したように、研究事業として明確な目標の設定を行うとともに事業評価も行っていくことが必要である。

なお、治療研究事業における診断については、対象疾患の性質に鑑み、一定の高度な医療技術を擁する医療機関において行われる事が望ましいという意見があったので附記する。

4. 今後の特定疾患の定義と治療研究事業対象疾患の選定の考え方

（1）特定疾患の定義について

現在、特定疾患については、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究が行わなければならない、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要素を満たす疾患の中から、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、健康局長の私的諮問機関である特定疾患対策懇談会における専門的な意見を踏まえて決定されており、神経、筋、血液、循環器、消化器、呼吸器、腎、皮膚、骨・運動器、感覚器などほとんどの医学の領域が網羅されている。

平成14年7月現在、特定疾患としては、厚生労働科学研究の一分野である対策研究事業において118の対象疾患が選定され、約60の研究班において病態の解明や治療法の開発に関する研究が行われている。さらに、これらの特定疾患の中で、診断基準が一応確立している疾患の中から原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、特定疾患対策懇談会の意見を踏まえて、45疾患が順次選定され、研究とともに患者の医療費の負担軽減を行っている。

なお、がん、脳卒中、虚血性心疾患、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神心疾患などのように既に組織的な研究が行われているものについては、研究への効率的な投資の観点から本事業の対象から除外されている。

これまで、患者数が少ないために研究体制の構築が困難な難治性疾患に重点化した特定疾患対策が、疾患の原因究明や治療法開発に貢献してきたことは評価に値するものであり、今後の難病対策を考える上でも、難治性疾患の原因解明や治療法の開発に関する施策に関しては、上記①～④の要件を基本とすることが適当である。

なお、難病特別対策推進事業や難病患者等居宅生活支援事業等の施策については、他の施策の対象となりにくい難治性疾患への福祉的事業という性格を勘案し、今後も引き続き特定疾患を中心に対象疾患を選定することが適当である。

また、「希少性」の要件については、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が、重点的・効率的な研究への投資の観点から引き続きこれを基本として対象疾患の選定を行うことが適当である。

なお、対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、特定疾患に指定された当時と比較して治療成績等の面で大きく状況が変化したと考えられる疾患については、当該疾患に対する治療成績をはじめ患者の療養環境の改善等総合的な観点から、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について検討する必要がある。

社会保障・税一体改革大綱（抄）

[平成24年2月17日閣議決定]

第1部 社会保障改革

第1章 社会保障改革の基本的考え方

（目指すべき社会・社会保障制度）

社会保障改革で目指すべき社会は、制度が出産・子育てを含めた生き方や働き方に中立的で選択できる社会、雇用などを通じて参加が保障され、誰もが居場所のある共生の社会、「分厚い中間層」が支える大きな格差のない社会、子どもが家族や社会と関わり良質な環境の中でしっかりと育つ社会、支援を必要とする人の立場に立った包括的な支援体制の構築により、地域で尊厳を持って生きられるような医療・介護の体制が実現した社会である。

第3章 具体的改革内容(改革項目と工程)

3. 医療・介護等②

(12) 難病対策

- (3)の長期高額医療の高額療養費の見直しのほか、難病患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えるため、医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象の希少・難治性疾患の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指す。

また、治療研究、医療体制、福祉サービス、就労支援等の総合的な施策の実施や支援の仕組みの構築を目指す。

☆ 引き続き検討する。

今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）（抄）

平成23年12月1日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

4. 今後の難病対策の見直しの方向性

ごくまれではあるが国民の中に一定の割合で発症する可能性のある難病について、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指す。

このため、

- 医療費助成について、事業の公正性、他制度との均衡、制度の安定性の確保の観点に立ち、法制化も視野に入れ、希少・難治性疾患を幅広く公平に助成の対象とすることを検討する。
- また、希少・難治性疾患の特性を踏まえ、治療研究の推進、医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策の実施や支援の仕組みを検討する。