

## 記念講演「新たな難病対策への展望」

講師 金澤一郎先生

日本学術会議会長

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員長

大変難しい題をつけてしまって、どうしようかと思ったのですが、ちょっと字が多くなりますが、新しい難病対策への思いを聞いて下さい。お話をいたします。

難病という言葉はよく使われていますが、難病とは何だろうか。対策の歴史、現状の問題点、各国との比較をして最後に、新しい治療研究事業の在り方について私の意見を述べさせていただきます。

### ①難病とは

まずは難病とは何だろうか、ということから始めます。

一般的な意味で、治療が難しく原因が不明な病気を「難病」というふうと呼ぶことは、一般社会ではよくあることです。それでも悪くないのですが、行政がからんでくるとそう簡単にはいかない問題が出てきます。したがって、昭和47年に世界に先駆けて、ここが大事ですよ。世界に先駆けて「難病対策要綱」というのが当時の厚生省で作られたわけです。

その概念として、第1に、原因が不明である。したがって、第2に、治療法が未確立である。第3に、これは病気によって違うかもしれませんが、基本的には後々の後遺症が残るおそれがある。第4に、経過が慢性である。その結果として、第5に、経済的な負担あるいは労働に支障が出るなどの人的な負担、家族の方々の負担が重い。第6に、御本人あるいは家族の精神的負担が大きい。こういう病気として定義されました。

そうして、この世界に誇るべき要綱ができた時、取り上げる疾患については、先ほどあげたものをさらに一緒にして2つの項目に整理されました。

- 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

そしてこのときに対象疾患を限定しました。

対象疾患をここで限定されたということが、実は今にもずっと続いて行われていることで、これが後で問題になってきますが、この時に現在の施策の基本の形ができました。

それは、まずは右の方、調査研究だけの対象疾患、もう一方左の側は、研究の対象ではもちろんあるけれど、あわせて医療費助成も行う対象疾患。この2つに分けて指定されました。最初に医療費の助成も含めて対象になったのは、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の4疾患。医療費の助成がなく調査研究だけの対象としては、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、難治性肝炎の4疾患でした。

このように限定したのは、当時の行政としてはある意味で当然かもしれません。難病なら何でもかんでも対象にするというようにはいかないかもしれません。

## ②難病対策の歴史

次に、その後この難病対策要綱はどのように実行されてきたかという話に移ります。その前に、なぜ難病対策要綱ができたかということをもっとお話をしたいと思います。

まず先ほどのスモンが出てきます。昭和33年、北海道のあたりを中心に、まずは下痢をする、そのうちに手先、足先がしびれてくる。さらに進むと、目がチラチラして視力が落ちてくる。そして足がだんだんつっぱってくる。歩きにくくなる。という病気が多発しました。全国的にこの病気がひろがり、なかなか原因がわからず、まずは病名だけが見つきました。それがスモン（SMON、Subacute<亜急性> Myelo<脊髄> Optico<目> Neuropathy<末梢神経障害>）、こういう意味です。

急性ではないけれど慢性でもない。亜急性でしびれが出て脊髄の障害も、末梢神経の障害も目の障害、視神経の障害も伴う病気。これが全国的に広がって行って、数年経ちますと、埼玉、岡山、長野などでも集団発生しました。新聞にも出てまいりまして、これはウイルスではないかということが一時言われて、感染の疑いがあるとまで言われ、村や町の中で、そのことで苦勞する家族、人々が出て、社会問題化しました。

これに対して昭和40年に入ってから厚生省の研究費が少しくようになってきました。最初は細々と始まっていたのですが、昭和44年に科学技術庁が中心となって一本化し、「スモン調査研究協議会」を形成して、厚生省と科学技術庁合同のスモン解明へ向けた大型研究班ができました。これが、今の難病対策の原型、源流であるということをぜひご理解いただきたいのです。つまり、難病対策は研究から始まったのです。

翌年（昭和45年）になりますと、この協議会ではなく、社会保険審議会から「スモンのように原因不明、かつ、社会的にその対策を必要とする特定の疾患については全額公費負担とすべきである」という答申が出るわけです。この当時は、何としてでもこの病気の解明をしなければという気概に燃えていましたし、患者さんたちに対するまなざしは非常に暖かかった時代でした。

その流れとして、昭和46年、スモン調査研究協議会が、入院しておられるスモンの患者さんたちに対して月額1万円、当時の1万円ですから相当なものですが、治療研究費から支出をすることになりました。治療研究費からの支出です。このこともまた、後の混乱の元になることでもあるわけです。

そうこうするうちに、突如として昭和47年に、スモンがキノホルムという消化剤、正確に言うと止瀉剤、下痢を止める薬を大量に飲みすぎたための中毒ということがわかりました。医者も厚生省の人たちもびっくりしました。薬屋さんもびっくりしました。ただし

この時点では、結論を申しますと、我々を含めた医者思いこみによるものだと私は思っています。これは本当に反省しなくてはいけないことで、キノホルムというのは体内に吸収されないものだと思っていたんです。確かに水だけではほとんど吸収しませんが、おなかの中に入りますと、さまざまなものと一緒になりますので、体内に吸収されるということが後でわかってきました。したがって、これは人的被害ということになるということがわかってきたのです。

そうすると、救済に関しては当然ながら補償の流れはできるし、また、治療には本当にキノホルムでいいのかという研究もしばらく続きました。ここで、もうひとつ大きく生まれた発想は何かというと、こうやって大型の研究費を課して研究者が集まり、患者さんたちに協力してもらえれば、わけのわからない問題や未解決の問題もアツという間に結論が出るのではないかと思ったのです。それは当時、夢のような話ではありましたが、研究というものに対して、患者さんのご協力を得て研究者が寄せ集まって一生懸命努力するということの意義が、スモンの経験で一つ証明されました。そしてこの問題では、当時の厚生省が非常に頑張ってくれたことも大きかったと思います。

昭和47年、スモンがキノホルム中毒であるとわかったその年の秋、厚生省はいわゆる難病対策要綱を制定しました。それは、調査研究を推進すべきである。それから医療施設を整備すべきである。それから医療費の自己負担の解消をすべきである、との3本柱の方針をたてたわけです。

翌年(昭和48年)になりまして、先ほど申しましたようないくつかの限定された病気がだんだん増えてきます。例えば調査研究の対象となる特定疾患、研究だけですと4疾患が20疾患に増えます。治療研究対象、つまり、医療費の助成が行われる疾患は6疾患に増えます。この後も、だんだん対象が広がっていくわけです。昭和51年には特定疾患調査対象研究班が43にまで増えます。

こういう形でどんどん治療研究対象、あるいは調査研究対象の病気が増えていくものから、お金(公費)もずいぶんかかるようになりました。それを受けて、平成9年には対象患者の増加問題をどうするかということで、特定疾患対策懇談会が、難病の選定基準に「稀少性」という基準を入れました。いろいろな議論の末に、対象を「患者さんが少ない疾患」とするということを明示しました。

それでも対象疾患はなお増えていき、平成15年には研究対象の疾患が121、治療研究対象疾患が45になりました。

平成21年10月には、難治性疾患克服研究事業(調査研究)対象疾患は130疾患、特定疾患治療研究事業(医療費助成含む)は一気に11疾患増えて56疾患となりました。もちろん最後のあたりは政治的な動きも加わっての結果です。

現在の段階は、平成9年の考え方から基本的には変わってありませんが、対象疾患の選定基準というのは確定しているわけではありません。

こういうことを現実の問題にあてはめて考えるのですが、「稀少性」とはどういうことかという、有病率からみて概ね5万人未満、という数字を出しています。原因不明・原因だけではなくして発症機序が未解決のものも当然ながら、原因はある程度はわかっている、例えば遺伝もわかっている。遺伝子もわかっている。けどその遺伝子異常がどういうふうにして病気と結びつくかということがわかっていない以上は、わかったとは言えません。という考え方をしています。それから効果的な治療法が未確立であること。これは当然そう、完治に至らない以上はそういうことです。それから生活面への長期にわたる支障があること。ただし、他の公的事業で支援策のあるものは除きます。たとえば精神疾患。

### ③難病対策の現状

それでは現在の対策はどうなっているかということに移ります。

目的は先ほどから言っておりますとおりです。

実施主体は都道府県です。制度ができた時から基本的には国が半分、地方自治体が半分を負担することになっています。スライドでは「あるはず」と書いています。現実はそのじゃないということです。今、どのくらいの割合かご存知ですか。国が確か3割くらい、4分の1！？ 現在は4分の1だそうです。地方自治体の負担が7割5分というのでは、どうしようもない。地方自治体が疲弊するのはあたりまえです。

事業の内容ですが、対象疾患の治療費、これは調査研究の方ではなく治療研究の方です。医療保険の自己負担分のうち、全部または一部に相当する額の2分の1を毎年度の予算の範囲内で都道府県に対し補助するということです。

対象疾患は先ほど言いましたように、今は130疾患であり、治療研究対象は56疾患であります。受給者証を交付している件数は647,604件。予算額がどのくらいかと言うと275億円だそうです。これを多いとみるか少ないとみるか。これは考え方によります。

参考までに、現実をみていきましょう。みにくいスライドですが、先ほども稀少性のラインは5万人と言いました。横のラインが5万人のラインです。だんだん右肩上がりの疾患事の対象件数グラフがありますが、これを5万人をこえている疾患がいくつかありますね。しかしだいたい5万人の中におさまっているようにみえます。ただしどの疾患も必ず右肩上がりとなりますね。件数は必ず増えています。他の疾患に比べて件数をはるかに越えているのが、潰瘍性大腸炎とパーキンソン病とSLE(全身性エリテマトーデス)。SLEはちょっと下がり傾向にあります。つまり、患者さんは必ず増えていくものだという事です。

次のスライドは患者さんの数、受給者の数と公費負担額のグラフです。治療研究対象疾患の受給者の数と公費負担(国と地方自治体の負担をあわせた金額)になります。数や金額が多いことを批判しているのではないですよ。ご覧のとおりの実現を、みなさんが知っておく必要があると思うから申し上げているのです。

潰瘍性大腸炎とパーキンソン病、SLEをあわせると全体の3分の1を超えます。受給者

も公費負担額もそうです。この中でもパーキンソン病は数こそ2位ですが、公費負担分となるとだんぜん1位。つまり、使うお薬が非常に高い。こんなのが現実であるということを知っておいていただきたいと思います。

#### ④難病対策の問題点

今、現実を見ていただいた上で、次に問題点を考えてみたいと思います。

これは私の勝手な印象とっていいかもしれません。まずは、今もご覧いただきましたように対象患者さんの数は増加の一途をたどっています。

一方で、公的資金の直線的増加、つまり、患者さんたちの増加にあわせて公的資金が十分にそれに見合うだけ増えていくならいのですが、そういうことはどうも望みにくい現状があります。となると、どこかで経済的な破綻がおきます。このままの制度では、破綻は目に見えていると思います。

それからもう一つ大事なことは、かつては、ごく最近までと言ってもいいかもしれませんが、毎年一つずつくらいの病気が指定されていきました。最近は何もない時期がしばらく続きましたが、指定を受けている疾患と受けていない疾患があることは変わりありません。したがって、「難病」候補の病気をもつ患者さんたちにとって、「障害度」は難病指定の患者さんよりも大きいかもしれない。そういう方々にとってみれば不公平と思われるのは当然です。指定基準についても、先ほど稀少性を含めて申しましたが、必ずしも決め方に満足なさらぬ方も当然あります。さらに医療費の負担が国と地方自治体が半々と言ってもこれが守られていない。いずれ地方自治体が負担に負けてしまう可能性はゼロではありません。

ここから先が大事ですが、一方ではもう認定をやめようということを考える人もいるかもしれません。しかし、すでに公費負担で医療費の負担軽減を受けている方々を、反対に切り捨てるわけにいかないのも現実です。これは非常に大事なことであって、いったん国が認定した以上は、何らかの形で支援を続けるのが現実であろうと思います。そのあたりがなかなか難しいことです。

さて、どうしたらいいのでしょうか。問題点をみていこうと思います。

多分この表は新聞などで目にしている方もあるかもしれませんが、まともに、まじめに深刻に考えたことはあまりないのではないのでしょうか。

まずは医療費について新聞等でよく言われるのは、日本は欧米諸国、OECD 諸国の中で決して総医療費は多くはないと、聞かれた方も多と思います。確かに GDP 比で、日本はそう多くはありません。OECD 平均より少ない。数年前までは 30 兆円くらいにおさえられています。それが民主党政権になって、今や 35 兆円を超えるほどになりました。

その内訳をみていきます。医療保険でまかなわれている分のうち、A というのは本人＋家族の被用者保険、社会保険です。B が国民健康保険。あわせて 18 兆円くらい。異常にふえているのが 70 歳以上の医療費。いずれ制度の変更があるでしょうが、高齢者負担が

15兆円。ここがズーンと増えているのがおわかりでしょう。

みなさん方に関係のあるのは公費負担の方です。何と1.2兆円から1.7兆円、0.5兆円増えています。それでも、これを多いとみる人は今日の参加者のなかにはいないのではないのでしょうか。例えば、35兆円という総医療費の中で、例えばその半分くらいが難病対策の公費負担分だったら、これはちょっと考えなければいけません。しかし、1.7兆円です。これであればもうちょっと余裕がありそうな感じはします。ここから先は政治の問題になります。

しかもその中のかかなりの分、多分8割くらいは、実は慢性透析患者さんのために使われている費用ですが、それをご存知ない方が多いと思います。私は、これをけっしてやめようと言っているのではないのです。現実をきちんと見るべきだと思って言っているのですから誤解のないようにお願いします。この参加者の中に人工透析を受けていらっしゃる方もいると思いますが、決して誤解しないで下さい。1972年に人工透析の患者さんの自己負担がなくなりました。その時点の対象患者さんは3631人。それ以後毎年増えていきます。例外的に減った年もありますが増え続けて、何と今は28万人を超えています。これは先ほどの難病、いわゆる指定特定疾患ですね。その対策でごらんのように必ず患者さんは増えていきます。ここから先は厚労省疾病対策課が作った資料をわかりやすく改変してごらんに入れますが、今後のあり方を考える上で大事な資料なので見てください。

ひとつは、稀な難治性の疾患という、これは数え方によりますが数千はあると考えられます。世界中に10人しかいないという疾患も含めてです。ここに5000~7000という数字が上がっていますが、稀少難病の定義は各国で異なるために私は幅があると思います。

この中で、ごく一部の少ない疾患が特定疾患治療研究事業の対象疾患としてあげられているわけです。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など。もう一つその周辺に、調査研究だけの対象が130疾患。さらに最近、ちょっとカテゴリーが違うのではないかととも言われていますが、研究奨励分野という対象ができました。これは、難病ではないかどうかを調べてみようという疾患候補の指定が214疾患あります。要するに稀な難病というのはこれくらいあるということです。

その中で特定疾患治療研究事業の対象疾患への追加を希望する患者さんの団体が、国に要望をあげているだけでこれだけあります。たくさんあるということを見ていただければよいと思います。

もう一つ問題点を追加しておきますが、小児慢性特定疾患治療研究事業というのがありますが、この問題点はキャリアオーバーの問題です。つまり、昔はこういう難病をもった子供さんは小児のうちに亡くなると思われたかもしれない。まさか、キャリアオーバー、つまり小児の時期をすぎて大人の時期まで生きていただけるとは当時は思わなかったかもしれない。現実にはそうではなくて、大人になってからも立派に生活しておられます。じゃあその人たちを誰が面倒をみるのかということです。この事業は18歳で新規申請は打ち切られます。18歳時点で交付されていても20歳までで支援は打ち切られます。問題は

非常に深刻です。

大人の場合と病気は異なりますが、同じようなものもあるわけです。このことを全部含めて今の時点で特定疾患治療研究、治療研究ということは医療費を負担する助成するということを考えに入れた事業です。特定疾患治療研究事業に関する課題を現在、厚労省はどのようにとらえています。

ひとつは対象疾患（医療費助成制度）の谷間、つまり、難治性疾患のすべてをカバーできているわけではないということです。先ほど 5000～7000 という数字を挙げた疾患で、公費制度の対象となっていない残りの人たち。そういう人たちへの支援をどうするか。それから小児慢性特定疾患治療研究事業から対象年齢を過ぎた人たちのキャリアオーバーの問題。年齢を超えて大人になってからの支援をどうしていくのか。

2番目に、安定的な財源が確保できていない問題。この事業は、その時どきの政府の考え方で現在まで来たわけです。そういうことで良いのか。

それからもう一つは非常に本質的な問題ですが、稀少疾患の症例確保。患者さん達に協力していただいて研究を進めるといところで出発したことは申し上げましたが、そういう過去の制度を受け継ぎながらも、公費で医療費助成を行うという福祉的側面を生まれながらに持ってしまった制度だったということです。今後も本当にそれで良いのか、やっつけられるのかということが問われています。

## ⑤欧米における難病対策との比較

それでは、欧米の難病対策は、どういう状況にあるかということを見てみましょう。

日本とアメリカと欧州、ヨーロッパを比較してみると、実は日本の難病対策が先に行っているから、アメリカにしても欧州にしても日本の影響を受けていることがわかります。まずそう言っていると思います。どの国も、稀少性ということをあげています。

アメリカではどういう状況かということ、稀少疾患に対して臨床研究ネットワークを作ってそれなりのお金を出していますが、ただ患者さんの団体が非常に大きくてお金を持っていて、ちょっと日本と比較することは無理だろうと思います。

欧州ではどうか。イギリス、ドイツ、フランス、スウェーデンと並んでいますが、一般の医療費の患者さんの負担のところをみてみますと、イギリスはご承知のとおり原則無料です。フランスではいったん患者さんが払うけれども後で戻ってきます。ドイツ、スウェーデンでは低額を負担しています。日本は定率の3割負担です。

難病の患者さんたちに対してはどうかというと、これはちょっとバラバラです。いろいろなやり方があるようです。

つまり、難病の対策ということについては、日本は相当進歩しています。ただひとつ、福祉的なところと、公費的なところをいっしょにしているところに、私はどうも問題があると思えて仕方がありません。

## ⑥新しい治療研究事業の在り方（私案）

そこで新しい治療研究事業の在り方について、私の案を最後にお話して講演を終わりたいと思います。私個人の問題提起ですので、そのおつもりで聞いてください。

改善すべき点をいくつかあげます。

ひとつは難治性疾患の範囲を拡大する方向へ改めること。全部聞いていただいて、ワンセットでとらえてください。

現在は、ひとつひとつの疾患を入れようか入れまいかとやっているわけです。私としては不公平感がどうしても気になって仕方がありません。ある疾患だけを取り上げることの整合性がとりにくいように思います。むしろこの際思いきって対象とする難治性疾患の範囲を先ほどの5000とか7000に広げたらどうかと思います。

その上で、そこからはずれるもの、あるいは新しい病気で、まだわからないものも出てくるでしょう。そういう時にはしかるべき委員会をいつも用意していて、そこで迅速に判断して決めればいいと私は思います。

つまり病気を指定するという場合には、非常に広い範囲までカバーするものにしておいた方が良くはないかというのがまず最初の提案です。

難治性の疾患に対しては、3つの事業があります。調査研究事業、治療研究事業、医療費補助事業の3つです。それぞれを別々の事業に分けるべきであるという提案です。

調査研究事業というのは、実態を調べたり、患者がどういう経過を辿るのかという研究をすすめる。日本のやってきた内容は世界に誇るべき制度であり内容だと思います。例えば脊髄小脳変成症を例にとりますが、この遺伝性疾患のいくつかの遺伝子をきめたのは日本の研究班です。世界に誇るものです。パーキンソン病の研究も一部はそうです。

次は治療研究事業です。これは医療費補助事業と切り離すべきだと思います。その上で治療研究事業はどうするかということですが、これは何でもかんでもSLE、パーキンソン病、潰瘍性大腸炎、それぞれに治療研究がしょっちゅうあるわけではありません。つまり、これはもしかすると治療になるかもしれないと、研究の芽が出てくる時期が必ずあります。その時にすみやかにそういう班を構成する。そして集中的にそこにお金を投入して薬として開発かできるかどうか検討をする。そういう方式をとるべきではないかと私は思います。脊髄小脳変成症でPRHというホルモンがわかり、PRH開発というプロジェクトを作って成功させたことがあります。そういう方式をとることがよいと思います。

その上で医療費補助事業を別に起てるべきと思います。先ほど新たに定義をしました難治性疾患の5000から7000。それに対しては次の基準で実施してはどうかという提案です。この制度は、障害保健福祉施策の一環に組み込むことでとめます。

その条件は何かというと、3つのファクターを考慮に入れて、どのくらいの補助をしたら良いかをきめる。病気できめるわけではないということです。

3つの要素のひとつは、今はどういう障害の評価をしているかということ、薬を飲んでいる状態で、調子がいい段階で障害の程度はどれくらいかと聞いていますが、これは間違い

だと思えます。薬を飲んでないとしたらどれくらいの障害になるかということ、薬だけでなく治療全部含めてですね、それで障害を判断する。

2つ目には、その上で手術料や薬の値段がどれくらいになるかをもうひとつのファクターとして加えます。それがないとまともな生活ができないわけですから。

3つ目は、家族や患者さんの総収入を考慮に入れます。

この3つを、少しウエイトをどこかに置くかもしれませんが、うまく組み合わせれば、カバーすることができるのではないかと考えています。

例えばある人が、障害の程度はそれほどひどくはないのだけれど、薬を使うともっとよくなるとします。だけどその薬は非常に高い。そういう時にどうしようかということですね。

この3つの要素を、どこか信頼できる委員会その他で決めればいいのかと思います。そこに、専門医が働く場所ができると思います

もう一つが先ほど言いました障害保健福祉的な観点をカップリングさせて、そのための新しい財源を求めていく。これはいろいろな見方があると思いますが、障害保健福祉目的税のような創設も考え、行政の方々も含めて知恵を出していただきたいと思います。財源がある程度ないとできないことですから。その時にふと思うのは、日本の総医療費 35兆円のうちの 1.7兆円。2兆円にもまだいかない程度の補助であることを思い返していかねばならないと思います。

これが今日のお話の最後になるかと思いますが、難治性疾患対策および障害保健福祉事業などを長期的に計画する場合には、国民のみなさんに理解を求めるプロセスを積極的に活用する必要があります。これは決して国民のみなさんの言うとおりにした方がいいと言っているのではないのです。国民のみなさんに理解を求めて、嫌だけれども仕方がない、でも結構だからやろうということ、みんなが納得するかたちで進めるべきだろうと思います。基本は、公平を原則として整理された難治性疾患や障害者への持続的な支援がなされるようなシステムを、多くの国民の支持を得て確立する必要があるということだと考えます。

ご静聴ありがとうございました。

(文責：第1回難病・慢性疾患全国フォーラム実行委員会事務局・水谷幸司)