

第1回難病・慢性疾患全国フォーラム
—すべての患者・障害者・高齢者が安心して暮らせる社会を—

我が国の新たな 難病対策への展望

日本学術会議会長 金澤一郎

平成22年11月28日

(国立オリンピック記念青少年総合センター)

本日のレジュメ

- ① **難病**とは？
- ② 難病対策の**歴史**
- ③ 難病対策の**現状**
- ④ 難病対策の**問題点**
- ⑤ 欧米における難病対策との**比較**
- ⑥ 新しい治療研究事業の**在り方**

①

難病とは？

難病の定義

- 1) 一般的定義：原因不明の難治性疾患の総称
- 2) 世界に先駆けて我が国の厚生省が昭和47年に作成した「難病対策要綱」における「難病」の概念
 1. 原因が不明
 2. 治療法が未確立
 3. 後遺症を残すおそれがある
 4. 経過が慢性にわたる
 5. 経済的・人的に家庭の負担が重い
 6. 本人および家族の精神的負担が大きい

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

この時、対象疾患を限定した→現在にまで続く!!

医療費助成の対象

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、

調査研究だけの対象

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

②

難病対策の歴史

難病対策の歴史(1)

★昭和33年

SMONの初めての学会報告

★昭和39年

SMONの埼玉県、岡山県、長野県などでの集団発生

★昭和40年代前半

SMONの患者増加、感染も疑われ、社会問題化

★昭和44年

SMONIに対する研究費が、数年前から細々と始まっていたものを一本化し、「スモン調査研究協議会」を形成して厚生省と科技庁の合同の「スモン解明への大型研究班が発足

★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)

難病対策の歴史(2)

★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3月

スモン調査研究協議会がSMONをキノホルム中毒と断定

★昭和47年7月

厚生省公衆衛生局に特定疾患対策室が設置され、特定疾患研究費補助金として5億3千万円の予算がつく。

★昭和47年10月

厚生省が、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、を3本柱とする「難病対策要綱」を制定。
この時には、まだ「希少性」の概念はあまりなかった!

難病対策の歴史(3)

★昭和48年7月

厚生省は、調査研究の対象となる特定疾患を20疾患に増加。
治療研究対象となる疾患を6疾患に増加。治療研究疾患では
医療保険による自己負担額を公費助成する制度が発足。

★昭和51年4月

特定疾患調査研究班が、43にまで増える。

★平成9年3月

対象患者の増加を受け、「特定疾患対策懇談会」は難病の
選定基準に「稀少性」を明示する。

★平成15年

研究対象疾患121、治療研究対象疾患45になる。

★平成21年10月

研究対象疾患130、治療研究対象疾患56になる。

現在に至る

調査研究事業対象疾患の選定基準について (平成9年3月の特定疾患対策懇談会報告)

①稀少性

患者数が有病率からみて概ね5万人未満の疾患とする

②原因不明

原因または発症機序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、または発症を予防し
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

日常生活に支障があり、いずれは予後不良となる疾患ある
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

他の事業で研究が行われているものは除外する

③

難病対策の現状

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

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 (本来は国が1/2、地方自治体が1/2であるはず)

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

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) --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**

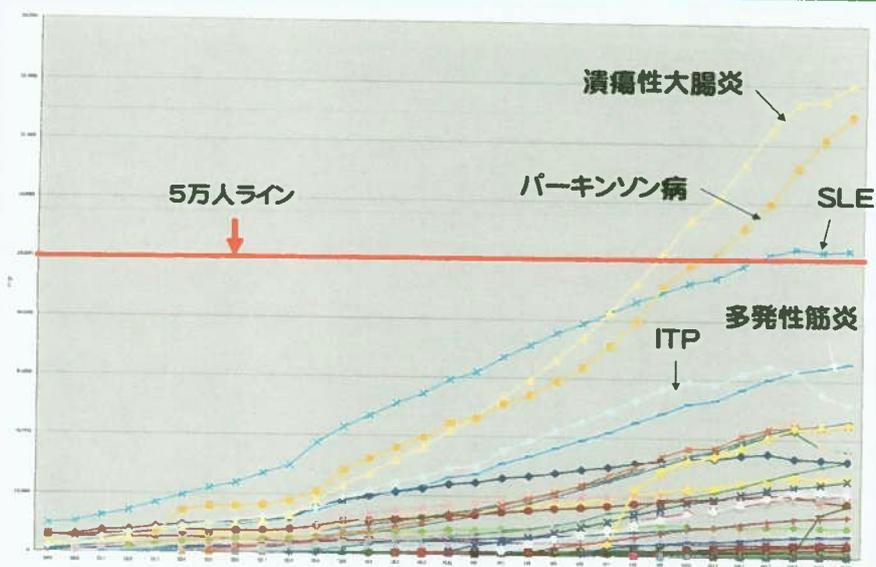
<参考>臨床調査研究分野の対象疾患

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)

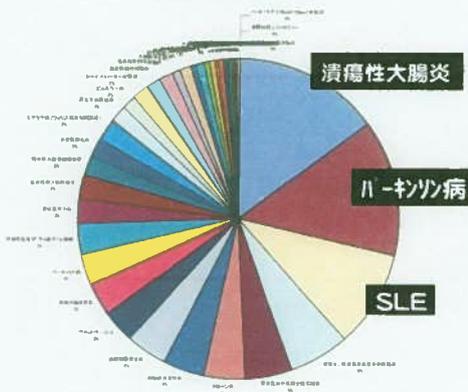
4

特定疾患治療研究事業疾患別受給者数の30年間の推移

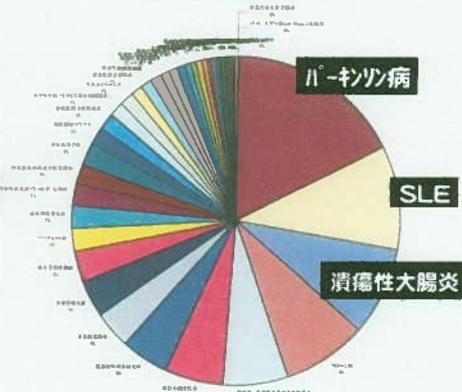


特定疾患治療研究事業疾患別構成比

受給者数



公費負担額



④

難病対策の問題点

難病対策における問題点(私見)

1. 対象患者数は増加の一歩をたどる。一方、公的資金の直線的増加が望みにくい現状がある。従って、**このままではいつか経済的に破綻する。**
2. 指定を受けていない疾患による「難病候補患者」には**不公平感が根強くある。**指定基準が明確化されていないので、決定に納得できず、衡平性に大きな問題が残る。
3. 医療費の負担が国と地方自治体が半々という原則が守られず、**地方自治体が破綻寸前**である。
4. 一方、すでに特定疾患に指定されている疾患の指定をはずしたり、認定されている患者の**認定を取り消すことはもはや現実的ではない。**

国民医療費の内訳とその変遷 (単位:兆円)

年 度	総 計	医療保険適用		70歳<	公費
		A	B		
平成13年度	30.4	9.7	7.8	11.7	1.2
平成14年度	30.2	9.4	7.7	11.7	1.2
平成15年度	30.8	9.2	8.0	12.3	1.3
平成16年度	31.4	9.3	8.0	12.8	1.4
平成17年度	32.4	9.4	8.1	13.5	1.4
平成18年度	32.4	9.4	7.9	13.8	1.4
平成19年度	33.4	9.5	7.9	14.5	1.5
平成20年度	34.1	9.8	7.9	14.8	1.6
平成21年度	35.3	10.0	8.1	15.5	1.7

医療費保険適用: 高額医療費を含む

A: 被用者保険(本人+家族)

B: 国民健康保険

公費: 難病、障害者等に対する医療のうち
国や地方自治体が負担した費用

(平成21年7月17日公表の厚生労働省資料より)

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
繊維筋痛症	NPO法人繊維筋痛症友の会
肥満閉経症	肥満閉経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ididm.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
ブラダー・ウィリー症候群	日本ブラダー・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)
軟骨異形成症	つくしの会
髄液減少症	特定非営利活動法人サンクラブ
遺伝型ミオパチー	遺伝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
ラスムッセン症候群	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
アトピー性骨髄炎	アトピー性骨髄炎患者会
ジストニア	NPO法人ジストニア友の会
ボルフィリン症	全国ボルフィリン症代謝障害患者会、民主党ボルフィリン症を考える会議員連盟
コケイン症候群	中提津町、日本コケイン症候群ネットワーク
胚嚢胎線維症	胚嚢胎線維症の治療環境を実現する会、胚嚢胎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。 厚労省疾病対策課作成

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

11疾患群(514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
- 106,368人
※H20年度給付人数
- すべて入院・通院ともに対象

10

特定疾患治療研究事業に関する課題(厚労省)

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(キャリーオーバー問題)

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。

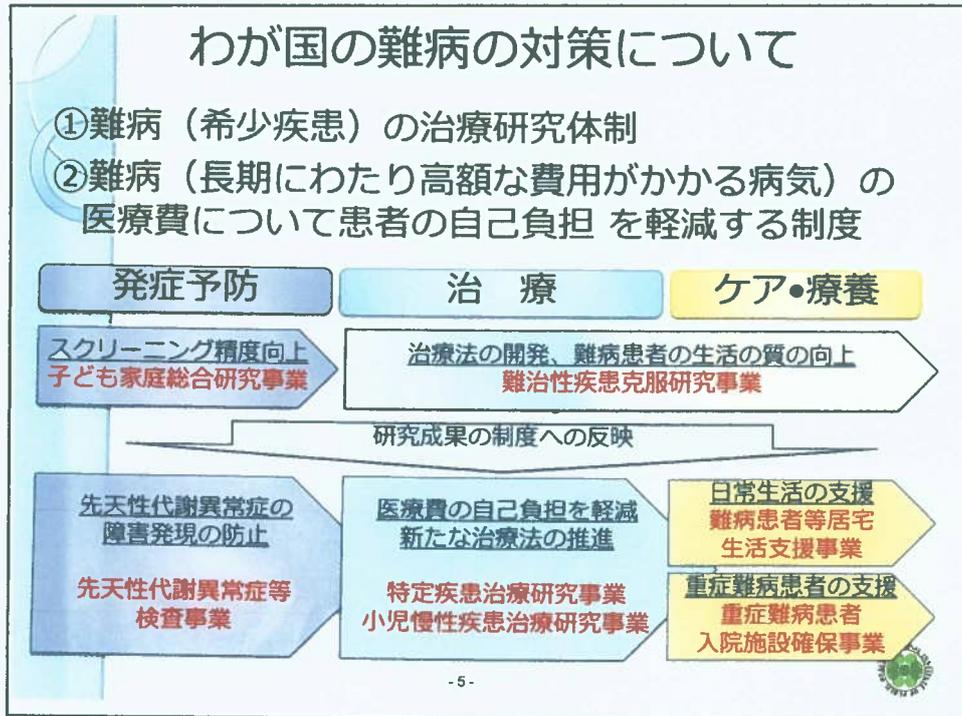
③ 医療費助成事業の性格

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

⑤

欧米における 難病対策との比較

～保健医療科学院 林院長の報告から～



日・米・欧における難病の定義と規定

	日本	米国	欧州
定義	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が概ね5万人未満^{※2}) ・原因不明 ・効果的な治療法が未確立 ・生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする) 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が20万人未満) ・有効な治療法が未確立 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が1万人に5人以下) ・有効な治療法が未確立 ・生活に重大な困難を及ぼす、非常に重症な状態
関連法規	難病対策要綱(1972) 薬事法等の改正 ^{※3} (1993)	希少疾病医薬品法 Orphan Drug Act (1983)	欧州希少医薬品規制 Orphan Medicinal Product Regulation (1999)

注1) 希少性を欧州定義に則った場合: 1万人あたり米国7人未満、日本4人未満
 注2) 薬事法第77条の2において希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器と指定する要件として、「対象者の上限を5万人」とされている。
 注3) 希少疾病用医薬品の研究開発促進を目的とした薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の改正 .6.

米国における希少疾患対象の臨床研究体制

○ 希少疾患研究対策室 (Office of Rare Diseases Research, 1989-)
 (2002年に法的位置付け) : 希少疾患に特化した研究の推進 (研究の調整・支援、研究費助成)、患者への情報提供など、希少疾患研究全体の運営を行う。

①新薬開発に主眼 ⇒NIHとFDAの連携の強化
 ②患者団体とのパートナーシップ
 ⇒RDCRNの研究申請には患者支援団体の関与が原則

○ 希少疾患臨床研究ネットワーク (Rare Diseases Clinical Research Network: RDCRN, 2003 -)
 米国内外の医学部付属病院および研究施設・病院がネットワーク化してコンソーシアム形成 (スイス、カナダなど海外からも参加)。5,000人以上の登録者 (5年間計画: 予算約102億円)

(保健福祉省)
国立衛生研究所

ORDR

NINDS

NICHD

NIAD

NINDS: National Institute of Neurological Disorders and Stroke,
 NICHD: National Institute of Child Health and Human Development,
 NIAD: National Institute of Allergy and Infectious Diseases
 NIAMS, NIDCR, NIDDK, NHLBI

* 上記他、7つの国立衛生研究所に属する研究施設があり、運営に関与する

欧州各国の医療制度及び難病患者に対する医療費軽減制度の概要 (一覧)

欧州においては、難病という概念ではなく、原則として長期にわたり高額な費用がかかる疾患を対象に医療費の支援を実施している。

区分	イギリス	フランス	ドイツ	スウェーデン
一般の医療費患者負担	原則無料	償還制	定額負担	定額負担
医療費財源	一般財源	公的医療保険	公的医療保険	一般財源
難病患者の医療費軽減制度	医学的除外認定証が発行され、処方料の自己負担分が免除	・ 特定重症慢性疾患の指定 (30疾患) ・ 自己負担の免除 ・ 公的補足保険提供	年間患者負担額の上限を世帯の年間所得の1%	・ (難病に限らず) 長期あるいは重篤な疾病の場合は、薬剤費無料

注) 償還制: 患者が一時的に全額を支払い、その後公的医療保険から医療費が償還される方式
 特定重症慢性疾患: 再生不良性貧血、パーキンソン病、クローン病、SLE等の疾患が含まれる。

イギリスの医療制度

○医療費：財源は**一般租税**＋**国民保険料**で受診時原則**無料**

主な財源	一般租税(80%)＋国民保険料(8.4%)※1
総医療費：対GDP比	1254億ポンド(約18.2兆円)：8.7%(2008)
自己負担	外来診療：なし
	入院診療：なし
	薬剤処方：1処方毎£7.20(約1000円)※2
1ポンド=約145円	

※1 国民保険料：雇用主と被雇用者から徴収する社会保険料。主に失業保険や年金の財源となるが、医療費にも繰り入れられる。収入により徴収率が異なる。

※2 薬剤処方料が免除されるのは、他に妊婦、16歳以下、65歳以上の高齢者、障害者、精神疾患罹患患者などや税控除(tax credit)を受けている低所得世帯など

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○医学的除外認定証が発行され、処方料の自己負担分が免除
(Medical Exemption Certificate: MedEx)

-4-

フランスの医療制度

○医療費：財源は**保険料**＋**目的税(CSG※1他)**で償還払い

主な財源	保険料(54%)＋目的税※2(38%)
総医療費：対GDP比	1810億ユーロ(約23兆円)：11.2%(2005)
自己負担※3	開業医医療：32.7%
	病院医療：7.2%
	薬剤処方：36.4%
1ユーロ=約125円	

※1 CSG：一般福祉税。租税であるが家族手当や医療費等に用途が特定されている。稼働所得・資産所得・投資益・競馬等獲得金などが課税対象。CMU：普遍的疾病給付・地域保険

※2 目的税には、CSGのほか、タバコ税、アルコール税などが含まれる

※3 自己負担分に対する保険(補足保険)を併用することが一般的(全世帯の90%以上)

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○特定重症慢性疾患の指定(30疾患) ○自己負担分の免除
○公的補足保険の提供(補足的CMU：低所得者)

-5-

ドイツの医療制度

○医療費：財源は**保険料**で定額負担だが**支払い上限あり**

主な財源	保険料(96%)
総医療費：対GDP比	1554億ユーロ(約19.5兆円)： 10.6%(2006)
自己負担*	外来診療：初診時€10 (四半期毎)
	入院診療：1日€10 (年間28日まで)
	薬剤処方：10%(€5 - €10の範囲内)
1ユーロ=約125円	

※ 一般的な年間患者負担額の上限は、世帯の年間実質所得の2%
年間患者負担額の減免は、連邦共同委員会(GBA)がガイドラインで、重症慢性病患者として同じ病気で四半期に1度以上医師を受診し、1年以上治療が継続しているなどの条件を定義している。

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○年間患者負担額の上限を、世帯の年間所得の1%

-6-

スウェーデンの医療制度

○医療費：財源は**一般税**で**一定の負担以上は無料**

主な財源	一般税 (地方70%+中央20%)
総医療費：対GDP比	2480億クローナ(約3.6兆円)： 9.1%(2005)
自己負担※	外来診療：1回100-300クローナ(上限あり)
	入院診療：1日80クローナ
	薬剤処方：累計額により遁減(上限あり)
1クローナ=約13.2円	

※外来診療の自己負担上限は1年間900クローナ(約1.2万円)

※薬剤費の自己負担額の上限は、1800クローナ(約2.4万円)

※自己負担額や減免措置などは、各ランスタング(県に相当)によって異なる

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○(難病に限らず)長期あるいは重篤な疾病の場合は**薬剤が無料**になる

-7-

⑥

新しい治療研究事業 の在り方(私案)

～とりあえずの問題提起～

改善すべき点①

「難治性疾患」の範囲を拡大する方向へ改める。

現在、厚生労働省で定めた“難治性疾患”に含まれている疾患は、福祉的な側面もあってかなり限定的であり、「特定疾患」に指定されて、研究の対象になるかどうか、そして場合によっては医療費補助の対照になるかどうか、が大いに問題になっていた。ここに「不公平感」の根源がある。そこで、この際思い切って“難治性疾患”の**範囲を広げる**ことにしてはどうか。つまり、5000とも7000とも言われる**稀少性疾患及び遺伝性疾患**の全てを含む膨大なリストを“とりあえずの難治性疾患”とすることを提案したい。そして、そのリストにない疾患が「難治性疾患と見なして良いかどうか」が問題になった時には、認定のための常置委員会を設置しておいて、そこで迅速に追加認定するのが良いと思う。

改善すべき点②

難治性疾患の「調査研究事業」、「治療研究事業」、「医療費補助事業」の3事業をそれぞれ別の制度にする。

- ★調査研究事業は、疾患の実態把握、病態解明などを目的とする世界に誇る研究事業として継続する。
- ★治療研究事業は、医療費補助事業と切り離すとともに疾患をあらかじめ「特定疾患」などとして指定するのではなく、新しい治療法や新薬開発の芽が出た時に速やかに新しい班体制など治療研究体制を速やかに構築できるようにする。
- ★医療費補助事業は、新しく定義された「難治性疾患」に対して、次に述べる基準で補助を実施することとする。なお、この事業は、障害保健福祉事業の一環に組み込むこととする。

改善すべき点③

「医療費補助事業」における補助の資格基準を改める。

以下の三つの要素を計算した上で、何らかの係数をそれぞれに掛け合わせて得られた指数を基にして、その一人の患者に対する公的援助費用を確定する。

- ①治療を受けていない状態での障害の程度を判定し、それを第一義的な基準とする。ただし、この障害度判定基準は新たに作成するものとする。なお、判定は「専門医」が行う。
- ②手術料や月々の薬代など治療に実際にかかる医療経費。
- ③患者や家族の総収入。ただし、従来基準はあまりにも低所得でないと救済されないため、改定を要する。

改善すべき点④

いわゆる「難治性疾患対策事業」を単独で行うのではなく、自立支援事業などの障害保健福祉的な観点による事業とカップルさせるとともに、新しい財源を求める。

★少なくとも、障害保健福祉的な観点からの措置、すなわち1) 医療費補助を受けること、2) 医療サービスを受けること、3) 社会福祉的サービスを受けること、の3つの側面は一体となった制度にするべきであろう。

★その場合に、必ずや必要な経費の自然増が考えられるので、その財源を積極的に求めてゆく必要があるだろう。場合によっては「障害保健福祉目的税」の創設も視野に入れる必要があるかもしれない。

改善すべき点⑤

「難治性疾患対策」および「障害保健福祉事業」などの長期的計画には、国民に理解を求めるプロセスを積極的に活用する必要がある。

★我が国では、福祉的政策にせよ、疾病対策政策にせよ、国民の税金を用いての政策であるにせよ、国民の理解を求めるプロセスが少なすぎると思われる。但し、パブリックコメントが、国民の民意であると思ってはならない。もっと正式に民意を問うことを考えるべきである。

★その時の基本は、「公平を原則として整理された難治性疾患や障害者」への「持続的な保護」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「政治的思想」である。