

# 難病対策の現状について

厚生労働省・難病対策委員会委員長

国際医療福祉大学 大学院長

金澤 一郎

## 難病対策の背景

- **昭和33年以來** スモンの発生が社会問題となる。その後、ベーシェット病や重症筋無力症等、原因が不明で治療法未確立の疾患患者に対する救済を求めて、国会議員が盛んに活動した。
- **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4月** 国会において難病に関する集中審議
- **昭和47年7月** スモン調査研究協議会がスモンは「キノホルム中毒」と断定。以後、スモンの研究体制のようなものが、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との考えを生んだ。
- **昭和47年10月** 厚生省「難病対策要綱」により総合的な難病対策の指針を作成

# 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)

※昭和49年の受給者数(対象10疾患)は17,595人

# 難治性疾患に対する研究・医療費助成事業の概要

## 特定疾患治療研究事業

〈医療費助成〉  
(56/130疾患)  
(350億円)

臨床調査研究分野のうち、治療が極めて困難で、かつ医療費が高額な疾患について、医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費負担の軽減を図る。

[自治体への補助金](平成24年度)

国負担・県負担 各1/2

総事業費 1,278億円(予測)

国が本来負担すべき額 639億円(予測)

国の平成24年度予算額 350億円

自治体の超過負担額  $\Delta$ 289億円(予測)

交付率 54.8%(予測)

## 難治性疾患克服研究事業

〈研究費助成〉  
(100億円)

### 臨床調査研究分野 (130疾患)

- ・希少性(患者数5万人未満)
  - ・原因不明
  - ・治療方法未確立
  - ・生活面への長期の支障
- の4要素を満たす疾患から選定し原因究明などを行う。

### 研究奨励分野 (234疾患)

4要素を満たす疾患のうち臨床調査研究分野に含まれないものであって、これまで研究が行われていない疾患について、実態把握や診断基準の作成、疾患概念の確立等を目指す。

### 重点研究分野

(革新的診断・治療法を開発)

### 横断的基盤研究分野

(疾患横断的に病因・病態解明)

### 指定研究

(難病対策に関する行政的課題に関する研究)

難病、がん、肝炎等の疾患の克服(難治性疾患克服研究関連分野)

難病患者の全遺伝子を極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進する。

# 今後の難病対策の検討に当たって(中間整理)(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

## 1. 今後の難病対策の見直しの方向性 (抜粋)

- 希少・難治性疾患は遺伝子レベルの変異が一因であるものが少なくなく、人類の多様性の中で、**一定の割合発生することが必然**。
- その確率は非常に低いものの、**国民の誰にでも発症しうる可能性**がある。
- たまたま罹患した患者は重篤かつ慢性の症状に苦しみ、治療法が未確立のため、**患者・家族の医療費負担は長期かつ極めて重い**。
- また、**希少性故に、社会一般の理解が得られにくい**上に、医療現場においても専門的医療機関を探すことに困難を来すなどの問題がある。
- 一方、国や地方公共団体の財政は厳しさを増しており、**制度の安定性を確保**することが重要になってきている。
- こうした中であっては、従来の弱者対策の概念を超え、希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、**これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい**。



# 今後の難病対策の見直しに当たってのポイント

## ① 公平性の確保

希少・難治性疾患の患者を、公平に対策の対象とする。

## ② 公正性の確保

対策の実施にあたっては、透明性を確保し、認定の適正化を行うなど公正性を確保する。

## ③ 他制度との均衡の確保

制度の設計にあたっては、他制度との均衡を図る。

## ④ 制度安定性の確保

将来にわたって安定的な制度とする。

## ⑤ 総合的・包括的な施策の実施

治療法の早期確立のための治療研究の推進、医療体制の整備、国民全体の理解を深めるための普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策を実施する。

## ⑥ 法制化の検討

希少・難治性疾患対策の基本となる法整備も視野に入れて、実効的な難病対策を実現できるよう、検討を進める。

# 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。

## 難病対策の改革の全体像(案)

平成24年8月16日に取りまとめられた厚生科学審議会  
疾病対策部会難病対策委員会の中間報告を具体化し、  
また、患者団体との意見交換会での意見を反映させ、  
今後の議論を進めるためのたたき台として作成したもの。



# 1. 改革の基本理念

難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。

※総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義については、個別施策の対象となる疾病の範囲の議論を深めつつ、引き続き検討する。

今後の難病対策の在り方(中間報告)(抄)

## 1. 難病対策の必要性と理念

○ いわゆる難病は、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ものである。難病患者は、治療方法が確立していない疾患に罹患し、往々にして生涯にわたる長期間の療養を必要とすることから、生活面における制約や経済的な負担が大きい。また、病名や病態が知られていないために、社会の理解が進んでおらず、就業など社会生活への参加が進みにくい状態にある。

○ このため、難病対策の見直しに当たっては、難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。また、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し、中間的な整理で示した「今後の難病対策の見直しの方向性」を踏まえ、時代に合った新たな難病対策の構築を目指す。

# 2. 改革の原則

1の基本理念に基づいた施策を、広く国民の理解を得ながら行っていくため、以下の4つの原則に基づいて新たな制度を構築する。

- (1) 難病の効果的な治療方法を見つけるための治療研究の推進に資すること。
- (2) 他制度との均衡を図りつつ、難病の特性に配慮すること。
- (3) 官民が協力して社会全体として難病患者に対する必要な支援が公平かつ公正に行われること。
- (4) 将来にわたって持続可能で安定的な制度とすること。

# 3. 改革の柱

(1) 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

(2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

(3) 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

## (1) 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

### ① 治療方法の開発の推進

- 「治りたい」、「病気の進行を抑えたい」、「機能を回復したい」という患者の切なる願いに応えるため、難病患者の情報を収集・活用しつつ、研究を推進。
- 難病研究全体の枠組みを抜本的見直し。
- 治療法開発、創薬等研究を重点的に推進。

### ② 総合戦略の策定

### ③ 国際協力の推進

- 国内における難病の研究成果を世界へ情報発信するとともに、難病に関する国際的な最新情報を収集し、医療現場や患者等へ還元。
- 国際的データベースとの連携。

### ④ 難病患者データの精度の向上と有効活用

- 「難病指定医(仮称)」が患者に診断書を交付する際に認定・審査等に必要項目を記載すると同時に登録を行うことができるよう特定疾患の調査解析を行う仕組みを構築。
- 難病指定医(仮称)から登録されたデータを一元的に集約・管理。
- 個人へIDを付与し、登録データを経年的に蓄積。小児慢性特定疾患の収集データとの連続性・整合性を検討する。
- 基本的な登録項目については、欧米の患者登録とも調和。
- 個人情報保護について十分に配慮し、難病研究に携わる研究機関、医療機関、企業等に対し、審査の上、幅広くデータを提供。

### ⑤ 研究成果の患者への還元

## (1) 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上(続き)

### ⑥ 医療機関の整備

○ 難病の様々な病態に対し対応できる高い専門性と経験を有し、多分野の難病指定医(仮称)が配置されている病院を「新・難病医療拠点病院(総合型)(仮称)」として都道府県ごとに原則1か所以上指定(特定機能病院等を想定)。

○ 「難病医療コーディネーター(仮称)」を配置。

○ 神経難病等特定分野の疾病に対して高度な医療を提供することができる医療機関を「新・難病医療拠点病院(領域型)(仮称)」として都道府県ごとに指定(従来の難病拠点病院等を想定)。

○ 難病の地域医療の推進や入院・療養施設の確保等のため概ね2次医療圏に1か所程度「難病医療地域基幹病院(仮称)」を指定。

### ⑦ 医療の質の向上

○ 難病の医療の質を向上させるため、治療ガイドラインを作成・周知。

○ 極めて希少な疾患についての高度専門的な対応のために、

① 国立高度専門医療センターや難病指定研究班がそれぞれの分野の学会と連携して専門医支援ネットワーク(仮称)を形成。

② 難病患者データを一元的に集約・管理提供。

専門医支援ネットワーク(仮称)

- ・ウェブサイト内での助言。
- ・困難症例の収集



## (2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

### ① 基本的な考え方

○ 症例が比較的少なく治療方法が確立していないという疾病に対し、

①治療方法の開発等に資するため、患者データの収集を効率的に行い治療研究を推進するという目的に加え、

②効果的な治療方法が確立されるまでの間、対症療法によらざるを得ず、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという福祉的な目的も併せ持つ医療費助成について、必要な財源を確保しつつ、法制化について検討。

### ② 対象疾患及び対象患者の考え方

○ 医療費助成の対象疾患については、

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要素を満たしており、一定の診断基準が確立している疾患を選定する。

○ 対象患者は、上記対象疾患に罹患している者のうち、重症度が一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者。

○ 効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、定期的に評価・見直し。

## (2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築(続き)

### ③ 対象患者の認定等の考え方

- 「難病指定医(仮称)」が患者に医療費助成に係る診断書を交付する際に認定・審査等に必要な項目を記載すると同時に疾病の登録を行う仕組みを構築。
- 自治体において申請を審査する「難病認定審査会(仮称)」の設置を法律で明確に規定し、体制を強化。
- 医療費助成の対象となる医療の範囲について、一層の明確化。
- 医療受給者証の更新を患者の誕生日にする等。

(注) 正当な理由で外来を受診することが困難な場合(例えば、神経難病等で人工呼吸器をつけ在宅医療を行っている場合、離島地域等に居住し、身近に難病指定医(仮称)が存在しない場合等)の例外を検討。

(注) 故意に難病治療と関係のない治療に関し、医療費助成の請求を繰り返す等の行為を行う指定医療機関に対し、障害者自立支援法における指定自立支援医療機関の取扱いと同様、自治体に指導、指定の取消しの権限を付与する。



## (3) 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

### ① 難病に関する普及啓発

### ② 福祉サービスの充実(障害福祉サービスの利用)

障害保健福祉関係主管課長会議(平成24年10月22日)資料(抄)

障害者の範囲の見直しについて

- (1) 1月下旬に公布予定の政令の中で範囲を決定する。
- (2) 厚生労働省では、全国の市区町村において難病等に配慮した円滑な障害程度区分の調査、認定が行われるよう、「難病の基本的な情報」や「難病の特徴(病状の変化や進行、福祉ニーズ等)」、「認定調査の時の注意点」などを整理し、関係者(調査員、審査会委員、自治体職員等)向けのマニュアルを作成し、来年2月を目途に配布。

### ③ 日常生活における相談・支援の充実

- 各都道府県の難病相談・支援センターを充実し、いずれの都道府県でも基本的な機能が果たせるよう必要な体制を確保。特に、ピアサポートなどの相談・支援を充実。

### ④ 保健所を中心とした地域支援ネットワークの構築

- 保健所を中心とした「難病対策地域協議会(仮称)」を設置。
- 地域支援ネットワークの構築の核となる専門性の高い保健師等を育成。

### ⑤ 就労支援の充実

- 既存の支援策(難治性疾患患者雇用開発助成金等)について、事業主や関係機関に対し普及啓発。
- 難病相談・支援センターとハローワーク等の関係機関の連携体制を強化。