

# 難病・小児慢性特定疾病対策について

厚生労働省 健康局 難病対策課

川野 宇宏

# 難病対策の経緯

## 難病対策の背景

- 国が難病対策を進めることとなった発端の一つは、スモンの発生。昭和39年以降、全国各地で集団発生を思わせる多数の患者発生があったために社会問題化。
- この原因不明の疾患に対しては、昭和39年度から研究が進められ、昭和44年にはスモン調査研究協議会が組織され、以後大型研究班によるプロジェクト方式の調査研究が進められた。
- 昭和45年、この研究班からスモンと整腸剤キノホルムとの関係について示唆があり。同年、厚生省(当時)は、キノホルム剤の販売等を中止。それ以降新患者発生は激減。
- 厚生省はスモンの入院患者に対して、昭和46年度から月額1万円を治療研究費の枠から支出することとした。
- 昭和47年にはスモン調査研究協議会の総括的見解として、「スモンと診断された患者の大多数は、キノホルム剤の服用によって神経障害を起こしたものと判断される」と発表された。
- 厚生省は、難病対策の考え方、対策項目などについて検討を加えるため、昭和47年に難病プロジェクトチームを設置し、その検討結果を「難病対策要綱」として発表。

## 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

### <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

## 難病対策

- 昭和47年に下記疾患から対策をスタート  
(下線のある疾患は、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
- ・ 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

※昭和49年の受給者数(対象10疾患)は17,595人

# 特定疾患治療研究事業(旧事業)における医療費助成事業の概要

①希少性、②原因不明、③治療方法未確立、④生活面への長期の支障の4要素を満たす疾患のうち、特定疾患について、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ことを目的として、医療費の自己負担分を補助する制度。

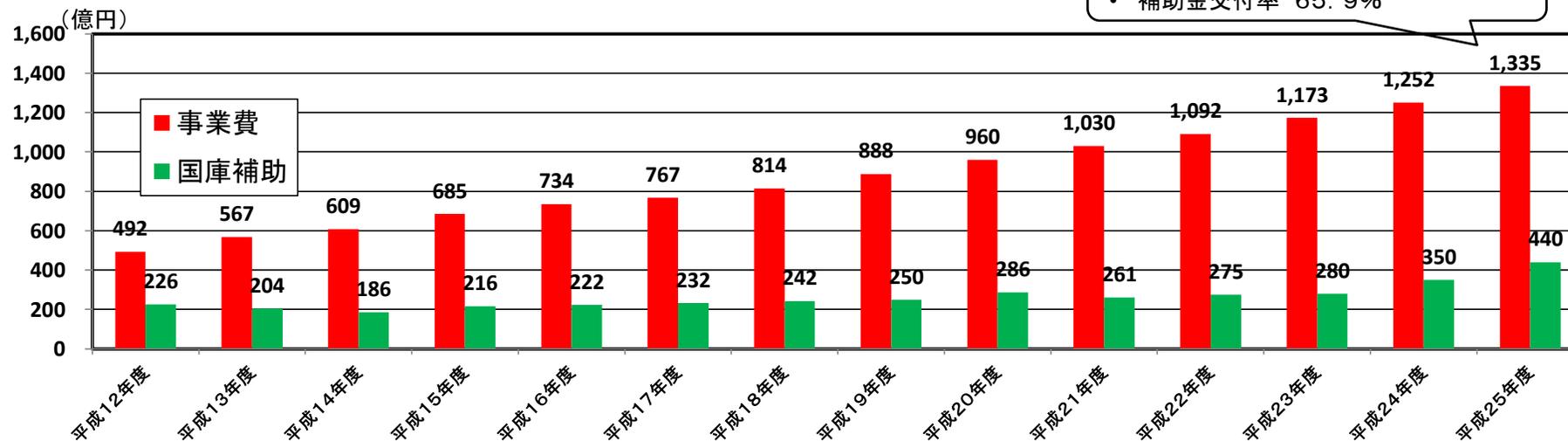
## 事業の概要

- 根拠法      なし（予算事業として実施）
- 実施主体    都道府県
- 補助率      予算の範囲内で1/2
- 自己負担    世帯の生計中心者の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。  
ただし、低所得者（住民税非課税）及び重症と認定された者は自己負担はなし。
- 対象疾患    56疾患（研究費の助成対象となる疾患から医療費助成の対象となる疾患を選定）
- 受給者数    約93万人（平成26年度、一部の疾病は平成26年度末時点）

## [事業の課題]

- 都道府県の超過負担の発生
- 要件を満たすが助成対象でない疾患の存在

## 事業費・国庫補助額の推移



# 難病法制定の経緯

平成23年	9月13日	第13回 難病対策委員会「難病対策の見直し」について審議開始
平成24年	2月17日	社会保障・税一体改革大綱 難病患者の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。
平成25年	1月25日	第29回 難病対策委員会「難病対策の改革について」(提言)
	8月6日	社会保障制度改革国民会議 報告書 難病対策の改革に総合的かつ一体的に取り組む必要があり、医療費助成については、消費税増収分を活用して、将来にわたって持続可能で公平かつ安定的な社会保障給付の制度として位置づけ、対象疾患の拡大や都道府県の超過負担の解消を図るべきである。 ただし、社会保障給付の制度として位置づける以上、対象患者の認定基準の見直しや、類似の制度との均衡を考慮した自己負担の見直し等についても併せて検討することが必要である。
	12月5日	「持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律(プログラム法)」が第185回国会(臨時会)にて成立 難病等に係る医療費助成の新制度の確立に当たっては、必要な措置を平成26年度を目途に講ずるものとし、このために必要な法律案を平成26年に開会される国会の常会に提出することを目指す。
	12月13日	第35回 難病対策委員会「難病対策の改革に向けた取組について」(報告書)
平成26年	2月12日	第186回国会(常会)に「難病の患者に対する医療等に関する法律案」を提出
	5月23日	「難病の患者に対する医療等に関する法律」成立(平成26年法律第50号)
平成27年	1月1日	<u>「難病の患者に対する医療等に関する法律」施行(110疾病を対象に医療費助成を開始)</u> 消費税引き上げによる収入を財源とし、法律に基づく公平かつ安定的な医療費助成制度を確立。 以後毎年、「社会保障の充実・安定化」にかかる経費として予算を確保している。
	9月15日	「難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針について」(基本方針)告示
平成28年	10月21日	難病対策委員会「難病の医療提供体制の在り方について」(報告書)取りまとめ

# 難病対策の改革に向けた取組について(概要)

## 難病対策の基本理念及び基本的事項

平成25年12月13日 厚生科学審議会  
疾病対策部会 難病対策委員会

- 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。  
※ 原因不明で、治療方法が未確立であり、生活面で長期にわたり支障が生じる疾病のうち、がん、生活習慣病等別個の対策の体系がないもの
- 国による基本方針の策定  
難病対策に係る基本方針を定め、医療や研究開発の推進を図るとともに、福祉や雇用などの他の施策との連携を図る。

### 第1. 効果的な治療方法の 開発と医療の質の向上

1. 治療方法の開発に向けた難病研究の推進
  - 診断基準の作成を行う研究や診療ガイドラインの作成の推進
  - 病態解明を行い、新規治療薬等の開発等を推進
2. 難病患者データベースの構築
  - 患者全員が登録可能。データを登録した患者に難病患者登録証明書(仮称)を発行
  - 「難病指定医(仮称)」が正確に診断し、患者データの登録を実施
3. 医療提供体制の確保
  - 新・難病医療拠点病院(総合型)(仮称)や指定医療機関(仮称)の指定
  - かかりつけ医等による日常診療
  - 難病医療支援ネットワーク(仮称)等により、正しい診断ができる体制を整備

### 第2. 公平・安定的な 医療費助成の仕組みの構築

1. 医療費助成の基本的な考え方
  - 新たな医療費助成は、治療研究を推進する目的に加え、福祉的な目的を併せ持つ
2. 医療費助成の対象疾患及び対象患者
  - 対象疾患は、患者数が人口の0.1%程度以下等であり、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立しているもの
  - 対象患者は、症状の程度が重症度分類等で一定程度以上の者、もしくは高額な医療を継続することが必要な者
3. 患者負担の在り方について
  - 負担割合を3割から2割に軽減し、所得に応じて負担限度額等を設定
  - 人工呼吸器等装着者の更なる負担の軽減
  - 現行の事業の対象であった者については、3年間の経過措置
4. 「医療受給者証(仮称)」の交付
  - 都道府県が対象患者に交付

### 第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
  - 難病情報センターにおける情報の充実
2. 難病患者の社会参加のための支援
  - 難病相談・支援センターの機能強化
  - 症状の程度等に応じた取組の推進
3. 福祉サービスの充実
  - 医療費助成の対象疾患の拡大に伴う障害福祉サービスの対象疾患の拡大
4. 就労支援の充実
  - ハローワークと難病相談・支援センターの連携強化等
5. 難病対策地域協議会(仮称)
  - 保健所を中心とした難病対策地域協議会(仮称)の活用等による適切な支援

# 難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年5月23日成立/平成27年1月1日施行）

## 趣旨

持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律に基づく措置として、難病の患者に対する医療費助成（注）に関して、法定化によりその費用に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な制度を確立するほか、基本方針の策定、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業の実施等の措置を講ずる。

（注）これまでは法律に基づかない予算事業（特定疾患治療研究事業）として実施していた。

## 概要

### (1) 基本方針の策定

- 厚生労働大臣は、難病に係る医療その他難病に関する施策の総合的な推進のための基本的な方針を策定。

### (2) 難病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

- 都道府県知事は、申請に基づき、医療費助成の対象難病（指定難病）の患者に対して、医療費を支給。
- 指定難病に係る医療を実施する医療機関を、都道府県知事が指定。
- 支給認定の申請に添付する診断書は、指定医が作成。
- 都道府県は、申請があった場合に支給認定をしないときは、指定難病審査会に審査を求めなければならない。
- 医療費の支給に要する費用は都道府県の支弁とし、国は、その2分の1を負担。

### (3) 難病の医療に関する調査及び研究の推進

- 国は、難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進。

### (4) 療養生活環境整備事業の実施

- 都道府県は、難病相談支援センターの設置や訪問看護の拡充実施等、療養生活環境整備事業を実施できる。

## 検討規定

法附則第2条において、「政府は、この法律の施行（平成27年1月）後5年以内を目途として、この法律の規定について、その施行の状況等を勘案しつつ、特定医療費の支給に係る事務の実施主体の在り方その他の事項について検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。」と規定されており、今後、必要な検討を開始する予定。

## 難病の定義

### 難病

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

患者数等による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病を幅広く対象とし、調査研究・患者支援を推進

例：悪性腫瘍は、がん対策基本法において体系的な施策の対象となっている

### 指定難病

難病のうち、患者の置かれている状況からみて良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いもので、以下の要件の全てを満たすものを、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定

- 患者数が本邦において一定の人数<sup>(注)</sup>に達しないこと
- 客観的な診断基準(又はそれに準ずるもの)が確立していること

(注)人口のおおむね千分の一(0.1%)程度に相当する数と厚生労働省令において規定している。

医療費助成の対象

# 指定難病患者への医療費助成の概要

- 指定難病にかかっている患者の医療費の負担軽減を図るため、その医療費の自己負担分の一部を助成する。

## 医療費助成の概要

- 対象者の要件
  - ・指定難病(※)にかかっており、その病状の程度が厚生労働大臣が定める程度であること。
    - ※①発病の機構が明らかでないこと、②治療方法が確立していないこと、③希少な疾病であること、④長期の療養を必要とすること、⑤患者数が本邦において一定の人数に達しないこと、⑥客観的な診断基準が確立していること、の全ての要件を満たすものとして、厚生労働大臣が定めるもの。
  - ・指定難病にかかっているが、その病状の程度が厚生労働大臣が定める程度ではない者で、申請月以前の12ヶ月以内に、その治療に要した医療費総額が33,330円を超える月が3月以上あること。
- 自己負担 患者等の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。
- 実施主体 都道府県、指定都市(平成30年度より指定都市へ事務を移譲)
- 国庫負担率 1/2(都道府県、指定都市:1/2)
- 根拠条文 難病の患者に対する医療等に関する法律第5条、第31条第1項

## 対象疾病

110疾病(平成27年1月) → 306疾病(平成27年7月) → 330疾病(平成29年4月) → 331疾病(平成30年4月)

## 予算額

- ・平成30年度予算額 : 101,252,300千円
- ・平成31年度概算要求額 : 108,404,249千円 (+7,151,949千円)

# 指定難病の拡充について

平成26年7月28日 指定難病検討委員会の開催

56疾病

旧事業(特定疾患治療研究事業)の対象疾病

10月 第一次実施分指定難病告示

平成27年1月1日 医療費助成を開始(第一次実施分)

110疾病

1月23日 指定難病検討委員会の再開(第二次実施分)

・追加 196疾病増

7月1日 医療費助成を開始(第二次実施分)

306疾病

平成28年3月25日 指定難病検討委員会の再開(第三次実施分)

・追加 24疾病増

平成29年4月1日 医療費助成を開始(第三次実施分)

330疾病

平成29年6月27日 指定難病検討委員会の再開(第四次実施分)

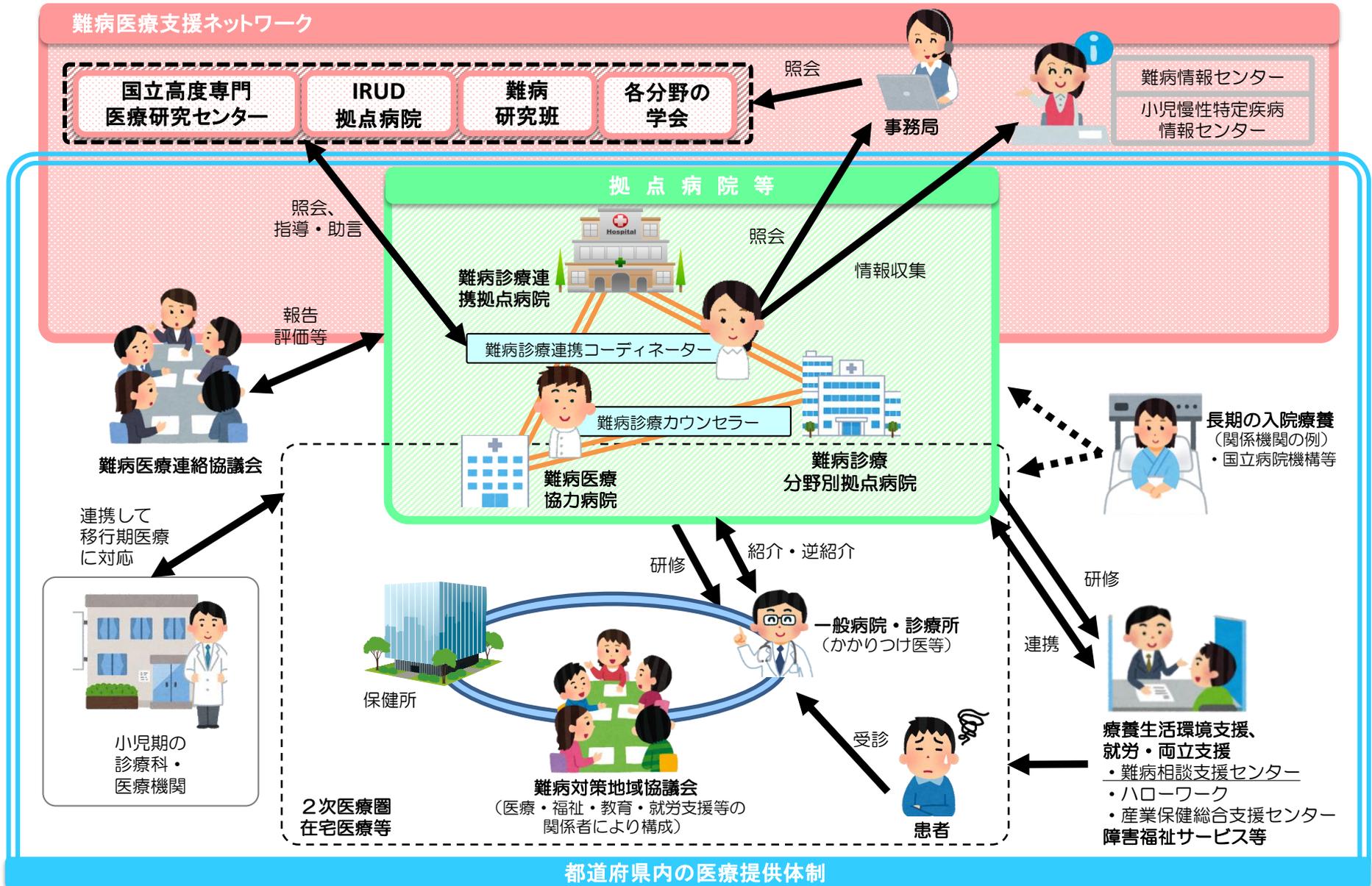
・追加 1疾病増

平成30年4月1日 医療費助成を開始(第四次実施分)

331疾病

平成30年8月9日 指定難病検討委員会の再開

# 新たな難病の医療提供体制のイメージ（全体像）



# 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実(難病患者を支える仕組み)

- 難病に関する普及啓発を推進、充実させる。
- 難病に関する相談体制の充実、難病相談・支援センターなどの機能強化を図る。
- 障害福祉サービス等の対象疾患を拡大する。
- 「難病患者就職サポーター」や「発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金」等の施策により就労支援を充実させる。
- 「難病対策地域協議会」を設置するなどして、総合的かつ適切な支援を図る。



持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律に基づく措置として、小児慢性特定疾病の患者に対する医療費助成に関して、その実施に要する経費に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な制度を確立するほか、基本方針の策定、慢性疾病児童の自立支援事業の実施、調査及び研究の推進等の措置を講ずる。

## 法律の概要

### (1) 基本方針の策定

- ・ 良質かつ適切な小児慢性特定疾病医療支援の実施その他の疾病児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針を定める。

### (2) 小児慢性特定疾病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

- ・ 都道府県・政令指定都市・中核市は、小児慢性特定疾病にかかっている児童等であって、当該疾病の程度が一定程度以上であるものの保護者に対し、申請に基づき、医療に要する費用（小児慢性特定疾病医療費）を支給。  
（現行の小児慢性特定疾病医療費助成は児童福祉法に基づく法律補助であるものの裁量的経費。今回、義務的経費化。）
- ・ 医療費助成に要する費用は都道府県等の支弁とし、国はその2分の1を負担。
- ・ その他、適正な医療費助成及び医療の質を担保する観点から指定医療機関（都道府県等が指定）制度等に関する規定を整備。  
  - 支給認定の申請に添付する診断書は、指定医が作成。
  - 都道府県等は、支給認定をしないときは、小児慢性特定疾病審査会に審査を求める。

### (3) 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の実施

- ・ 都道府県等は、相談支援など小児慢性特定疾病児童に対する自立の支援のための事業（※）を実施。

（※）必須事業：小児慢性特定疾病児童等、その保護者その他の関係者に対する相談支援、必要な情報提供、助言等

任意事業：①レスパイト（医療機関等における小児慢性特定疾病児童等の一時預かり）、②相互交流支援、③就労支援、④家族支援（家族の休養確保のための支援）等

### (4) 小児慢性特定疾病の治療方法等に関する研究の推進

- ・ 国は、小児慢性特定疾病の治療研究など、慢性疾病にかかっている児童等の健全な育成に資する調査及び研究を推進。

## 検討規定

改正法附則第2条において、「政府は、この法律の施行(平成27年1月)後5年以内を目途として、この法律による改正後の児童福祉法の規定について、その施行の状況等を勘案しつつ検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。」と規定されており、今後、必要な検討を開始する予定。

# 小児慢性特定疾病の医療費助成の概要

○ 小児慢性特定疾病にかかっている児童等について、健全育成の観点から、患児家庭の医療費の負担軽減を図るため、その医療費の自己負担分の一部を助成する。

## 医療費助成の概要

### ○ 対象者の要件

・小児慢性特定疾病(※)にかかっており、厚生労働大臣が定める疾病の程度であること。

※①慢性に経過する疾病であること ②生命を長期に脅かす疾病であること ③症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾病であること ④長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾病であること の全ての要件を満たし、厚生労働大臣が定めるもの。

・18歳未満の児童であること。(ただし、18歳到達時点において本制度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。)

- 自己負担
- 実施主体
- 国庫負担率
- 根拠条文

申請者の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。

都道府県・指定都市・中核市

1/2(都道府県・指定都市・中核市1/2)

児童福祉法第19条の2、第53条



## 対象疾患群

- |           |           |                |
|-----------|-----------|----------------|
| ① 悪性新生物   | ⑦ 糖尿病     | ⑬ 染色体又は遺伝子     |
| ② 慢性腎疾患   | ⑧ 先天性代謝異常 | に変化を伴う症候群      |
| ③ 慢性呼吸器疾患 | ⑨ 血液疾患    | ⑭ 皮膚疾患         |
| ④ 慢性心疾患   | ⑩ 免疫疾患    | ⑮ 骨系統疾患        |
| ⑤ 内分泌疾患   | ⑪ 神経・筋疾患  | ⑯ 脈管系疾患        |
| ⑥ 膠原病     | ⑫ 慢性消化器疾患 | ※⑮⑯は平成30年度から追加 |

## 対象疾病

・対象疾病数：756疾病（16疾患群）

## 予算額

・平成30年度予算額 : 15,042,557千円  
・平成31年度概算要求額 : 15,230,461千円

(187,904千円増)

# 小児慢性特定疾病児童自立支援事業

## 【事業の目的・内容】

幼少期から慢性的な疾病にかかっているため、学校生活での教育や社会性の涵養に遅れが見られ、自立を阻害されている児童等について、地域による支援の充実により自立促進を図る。

【実施主体】 都道府県・指定都市・中核市

【国庫負担率】 1 / 2 (都道府県・指定都市・中核市 1 / 2)

【根拠条文】 児童福祉法第19条の22、第53条

【予算額】 平成30年度予算額： 922,784 千円 → 平成31年度概算要求額： 922,784千円 (± 0千円)

## ＜必須事業＞ (第19条の22第1項)

### 相談支援事業



#### ＜相談支援例＞

- ・自立に向けた相談支援
- ・療育相談指導
- ・巡回相談
- ・ピアカウンセリング 等

### 小児慢性特定疾病児童自立支援員



#### ＜支援例＞

- ・関係機関との連絡・調整及び利用者との橋渡し
- ・患児個人に対し、地域における各種支援策の活用 の提案 等

## ＜任意事業＞ (第19条の22第2項)

### 療養生活支援事業



ex

- ・レスパイト
- 【第19条の22第2項第1号】

### 相互交流支援事業



ex

- ・患児同士の交流
  - ・ワークショップの開催 等
- 【第19条の22第2項第2号】

### 就職支援事業



ex

- ・職場体験
  - ・就労相談会 等
- 【第19条の22第2項第3号】

### 介護者支援事業



ex

- ・通院の付き添い支援
  - ・患児のきょうだいへの支援 等
- 【第19条の22第2項第4号】

### その他の自立支援事業



ex

- ・学習支援
  - ・身体づくり支援 等
- 【第19条の22第2項第5号】

# 難病・小児慢性特定疾病対策の 更なる推進に向けた懇談項目

- 1 医療費助成・医療提供体制について
- 2 軽症者を含む難病患者のニーズについて
  - (1) 就労支援について
  - (2) 福祉サービスについて
  - (3) 相談支援について
- 3 研究の推進について
- 4 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業について
- 5 その他