

難病対策の改革に係る検討状況について

平成25年11月9日(土)

厚生労働省 健康局 疾病対策課長
田原 克志

難病対策の検討経緯について

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

1. 設置趣旨

難病対策に関する専門的事項について調査審議するために平成13年9月に設置。難病対策については、昭和47年より特定疾患治療研究事業を中心に難病に対する医療の給付と研究を進めてきており、それらを含め、難病対策全般について検討を実施。

2. 構成

委員長 金澤 一郎 国際医療福祉大学院長

3. 開催実績

- 第13回難病対策委員会 平成23年9月13日
・難治性疾患対策の現状について
- 第14回難病対策委員会 平成23年9月27日
・今後の難治性疾患対策の在り方について
- 第15回難病対策委員会 平成23年10月19日
・これまでの委員会の議論の論点整理、難治性疾患の定義
- 第16回難病対策委員会 平成23年11月10日
・関係者ヒアリング(NPO、難病支援センター、患者団体、研究者)
- 第17回難病対策委員会 平成23年11月14日
・関係者ヒアリング(患者団体、研究者等)、論点整理の修正
- 第18回難病対策委員会 平成23年12月1日
・中間的な整理、関係者ヒアリング(障対課)、論点整理の修正
- 第19回難病対策委員会 平成24年1月7日
・平成24年度難病対策予算、在宅看護・介護等の在り方等
- 第20回難病対策委員会 平成24年2月9日
・障害福祉施策のこれまでの検討状況、WGの設置
- 第21回難病対策委員会 平成24年7月3日
・ワーキンググループの検討状況の報告
- 第22回難病対策委員会 平成24年7月17日
・難病手帳(仮称)の在り方、今後の難病対策の在り方(論点整理)

- 第23回難病対策委員会 平成24年8月16日
・難病を持つ子どもへの支援の在り方、中間報告の取りまとめ

「患者団体との難病対策に関する意見交換会」 平成24年8月18日

- 第24回難病対策委員会 平成24年10月30日
・難病対策の改革の全体像、医療費助成について等
- 第25回難病対策委員会 平成24年11月6日
・国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実について

「患者団体との難病対策に関する意見交換会」 平成24年11月9日

- 第26回難病対策委員会 平成24年11月15日
・効果的な治療方法の開発と医療の質の向上、医療費助成の認定
- 第27回難病対策委員会 平成24年12月6日
・第24回～第26回難病対策委員会における主な意見について等
- 第28回難病対策委員会 平成25年1月17日
・難病対策の改革について(提言)(素案)
- 第29回難病対策委員会 平成25年1月25日
・難病対策の改革について(提言)

難病対策及び小児慢性特定疾患対策に関する最近の動きと今後の予定

- 平成25年 1月 厚生労働省難病対策委員会「難病対策の改革について(提言)」の提示
小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会(小慢専門委員会)
「慢性疾患を抱える子供とその家族への支援の在り方(中間報告)」の提示
- 6月 患者団体との難病対策に関する意見交換会
- 7~8月 地方における患者団体との難病対策に関する意見交換会
- 8月 社会保障制度改革国民会議 報告書
※ 難病対策及び小児慢性特定疾患対策の改革について記載
社会保障制度改革推進法第4条の規定に基づく「法制上の措置」の骨子について(閣議決定) ※「H26年通常国会提出を目指す」旨記載
- 9月~ 難病対策委員会・小慢専門委員会 再開・適宜開催
- 10月15日 持続可能な社会保障制度の確立を図るため講ずべき改革の推進に関する法律案(プログラム法案) 臨時国会に提出
- 10月27日 難病対策に関する意見交換会
- 10月29日 難病対策委員会 【医療費助成に係る具体案を提示】
- 11月1日 小慢専門委員会 【医療費助成に係る具体案を提示】
- 11月中を目途 難病対策委員会・小慢専門委員会 とりまとめ

難病対策の改革について(提言)

平成25年1月25日 厚生科学審議会 疾病対策部会 難病対策委員会
(平成25年1月31日に疾病対策部会で了承)

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。

改革の4つの原則

- (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仕組みとすること。

改革の3つの柱

第1 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

- ・ 治療方法の開発に向けた難病研究の推進(新たな研究分野の枠組み)
- ・ 難病患者データの精度の向上と有効活用、国際協力の推進(全国的な難病患者データの登録など)
- ・ 医療の質の向上(治療ガイドラインの作成・周知など)
- ・ 医療体制の整備(新・難病医療拠点病院(仮称)、難病医療地域基幹病院(仮称)の指定など)

第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

- ・ 患者データを収集し研究を推進する目的に加え、医療費の負担が大きい患者を支援する目的を併せ持つ医療費助成を実施
- ・ 医療費助成の対象疾患の見直し
- ・ 対象患者の認定基準の見直し(症状の程度が重症度分類等で一定以上等で、日常生活又は社会生活に支障あり)
- ・ 難病指定医(仮称)による診断
- ・ 指定難病医療機関(仮称)による治療
- ・ 患者負担の見直し(重症患者の特例の見直し、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担の導入など)

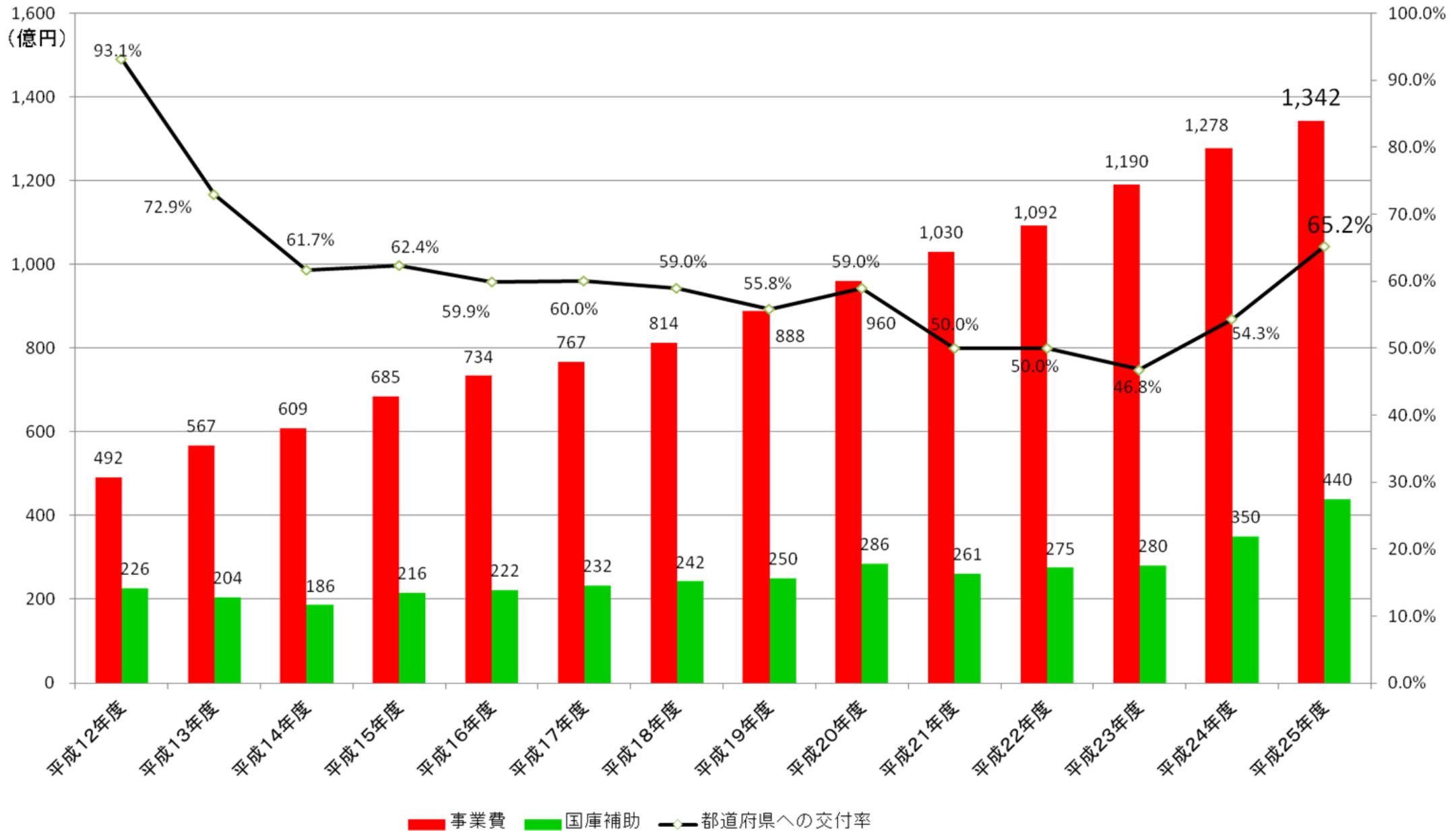
第3 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

- ・ 難病に関する普及啓発
- ・ 日常生活における相談・支援の充実(難病相談・支援センターの機能強化など)
- ・ 福祉サービスの充実(障害福祉サービスの利用)
- ・ 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など)
- ・ 難病を持つ子ども等への支援の在り方

難病対策の課題

- ・ 原因の解明すら未確立の疾患でも研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがある(疾患間の不公平)。
- ・ 医療費助成に係る都道府県の超過負担が生じている。
- ・ 難病に関する普及啓発が不十分なこと等により国民の理解が必ずしも不十分。
- ・ 難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分。

特定疾患治療研究事業の予算額と都道府県への交付率の推移



社会保障制度改革国民会議 報告書

～確かな社会保障を将来世代に伝えるための道筋～

(平成25年8月6日)

第2部 社会保障4分野の改革

Ⅱ 医療・介護分野の改革

3 医療保険制度改革

(3) 難病対策等の改革

希少・難治性疾患(いわゆる「難病」)への対策については、1972(昭和47)年に「難病対策要綱」が策定され、40年にわたり各種事業が推進されてきた。

特に、医療費助成は、難病が原因不明であって、治療方法が確立されていないため、長期にわたる療養が必要となり、その結果、比較的若い時期から長期にわたり高額な医療費の負担が必要となるなどといった難病特有の事情に着目して設けられてきた。

しかし、難病対策については、相対的には他の福祉制度等に隠れて光が当たってこなかった印象は否めず、対象となる疾患同様に原因不明で治療法未確立でも医療費助成の対象に選定されていないケースがあるなど疾患間の不公平が指摘され、予算面でも医療費助成における都道府県の超過負担の早急な解消が求められているなど、様々な課題を抱えている。

難病で苦しんでいる人々が将来に「希望」を持って生きられるよう、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る、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、公平性の観点を欠くことはできず、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。

慢性疾患を抱え、その治療が長期間にわたる子どもについても同様の課題があり、児童の健全育成の観点から、身体面、精神面、経済面で困難な状況に置かれ、将来の展望に不安を抱えている子どもやその家族への支援として、難病対策と同様の措置を講じていく必要がある。

医療費助成の対象疾患

医療費助成の対象とする疾患は年齢によらず、①患者数が人口の0.1%程度以下、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の4要素を満たしており、かつ、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立している疾患とする。

※上記の考え方に沿うと、医療費助成の対象となる候補は赤枠内の約300疾患。

〔現在、研究班において研究途中の結果を基にした疾患数。医療費助成の対象疾患は、最終的には第三者的な委員会で決定される。疾患の分類方法によって、今後疾患数は変わり得る。〕

	患者数			
	1000人以下 (不明含む)	1000人を上回り 5万人以下	5万人を上回り 人口の0.1%程度以下	人口の0.1%程度を上回る
診断基準あり	約70疾患	約80疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準に準ずるものあり	約100疾患	約60疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準なし	約40疾患			

- ※ 医療費助成の対象疾患に関する考え方を踏まえると、対象外と考えられるもの
- 希少性、原因不明等の観点から
生活習慣(喫煙、飲酒等)、薬剤、感染症、加齢現象等、誘因が明らかである疾患、悪性腫瘍
 - 効果的な治療法未確立の観点から
手術など一定程度の治療法が確立し効果的に施行することが可能な疾患
 - 生活面への長期にわたる支障の観点から
周産期疾患、急性疾患
 - 疾患概念が大きいまたは病態名であるもの

平成24年度「今後の難病対策のあり方に関する研究」(分担研究「希少・難治性疾患の類型化に関する研究」)報告書を基に作成。

研究対象疾患と医療費助成対象疾患の関係(イメージ)

一般的なイメージの難病

※ 「治りにくい病気」と考えられている疾患を概念的に含む

研究対象疾患

※ おおむね4要素*を満たし、実態も含めて研究が必要とされる疾患。診断基準が不明確な疾患を含む。

研究の成果をもとに、第三者委員会で定期的に対象疾患の見直しを行う。

医療費助成対象疾患

※ 4要素*を満たし、客観的指標**に基づく一定の診断基準が確立されている疾患

* ①症例が比較的少ない②原因不明③効果的な治療方法の未確立④生活面への長期にわたる支障

** 客観的診断指標とは、遺伝子診断や画像診断の他、医学的に他覚的所見として判断されるものを含む。

(参考) 現行の医療費助成における重症度分類等

(例) パーキンソン病で用いている重症度分類

(※診断基準によりパーキンソン病と診断された者のうち、Hoehn&Yahr重症度(表1)3度以上で、かつ日常生活、通院に部分又は全面介助を要する生活機能障害度(表2)2～3度の者とする。)

表1: Hoehn&Yahr 重症度

0度	パーキンソニズムなし
1度	一側性パーキンソニズム
2度	両側性パーキンソニズム
3度	軽～中等度パーキンソニズム。姿勢反射障害あり。日常生活に介助不要
4度	高度障害を示すが、歩行は介助なしにどうか可能
5度	介助なしにはベッド又は車椅子生活

表2: 生活機能障害度

1度	日常生活、通院にほとんど介助を要しない
2度	日常生活、通院に部分的介助を要する
3度	日常生活に全面的介助を要し、独立では歩行起立不能

(例) 特発性間質性肺炎で用いている重症度分類

(※診断基準により特発性間質性肺炎と診断された者のうち、重症度分類判定表(表2)Ⅲ度以上の者とする。)

表2: 重症度分類判定表

新重症度分類	安静時動脈血酸素分圧	6分間歩行時 SpO ₂
I	80Torr 以上	
II	70Torr 以上 80Torr 未満	90%未満の場合はⅢにする
III	60Torr 以上 70Torr 未満	90%未満の場合はⅣにする (危険な場合は測定不要)
IV	60Torr 未満	測定不要

【疾患名】	【重症区分】
劇症肝炎	昏睡Ⅱ度以上の肝性脳症等
パーキンソン病	Hoehn&Yahr分類3度以上、かつ生活機能障害度が2度以上
後縦靭帯骨化症	日常生活への支障及び上肢、下肢運動機能が低下したものの接合部型及び栄養障害型のみ
表皮水疱症	生活機能障害度が2度以上
広範脊柱管狭窄症	無症候性以外のもの
原発性胆汁性肝硬変	軽症ならびに中等症は対象外
重症急性膵炎	重症度分類にてⅢ度以上
特発性間質性肺炎	重症度分類にてⅡ度以上
網膜色素変性症	重症度分類にてStage4以上
神経線維腫症Ⅰ型	門脈圧亢進所見のある症例に限定
バッド・キアリ症候群	日常生活への支障及び上肢、
黄色靭帯骨化症	下肢運動機能が低下したものの

難病に係る新たな医療費助成の制度案

10月29日難病対策委員会資料
赤字は前回委員会資料(10月18日)
からの修正点

○自己負担の割合について、現行の3割から2割に引下げ。

○自己負担の限度額について

- ・ 高額療養費制度における高齢者の外来の限度額を参考にしつつ、階層区分を細分化。
- ・ 症状が変動し入退院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
- ・ 受診した複数の医療機関等の自己負担(※)をすべて合算した上で負担限度額を適用する。

※ 薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。

○同一世帯内に複数の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。

○入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担について、患者負担とする。

☆新たな医療費助成における自己負担限度額(月額)

(単位:円)

階層区分	年収の目安 (夫婦2人世帯)		自己負担限度額(患者負担割合:2割、外来+入院)	
			原則 (新規認定者)	経過措置(既認定者) 【概ね3年間】
I	生活保護		0	既認定者の取扱いについては、低所得者に配慮しつつ、別途検討。
II	市町村民税 非課税	～約80万	3,000	
III		約80万～約160万	6,000	
IV	約160万～約370万		12,000	
V	約370万～約570万		24,600	
VI	約570万～		44,400	

○高額な医療で軽症を維持している場合

助成の対象は症状の程度が一定以上の者であるが、軽症者であっても、高額な医療(例:月ごとの医療費の負担が24,600円を超える月が年間3月以上ある場合)を継続して必要とする者については、医療費助成の対象とする。

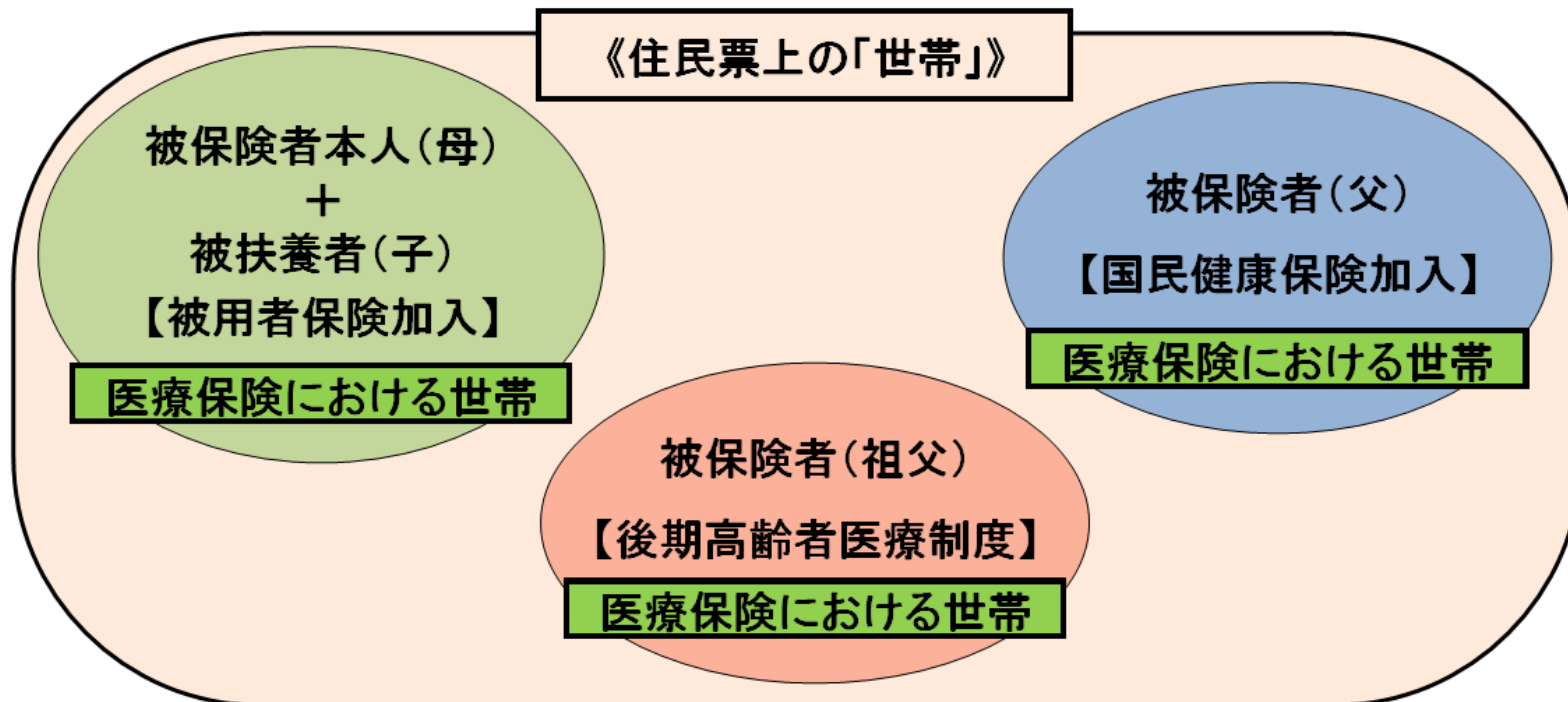
医療保険における世帯の取扱い

○ 被用者保険

- ・ 被保険者及びその被扶養者を一つの加入単位とする。
- ・ 被扶養者は被保険者の申告に基づいて決定される。その際、被扶養者となる者が被保険者の直系尊属、配偶者、子、孫及び弟妹であれば、住民票上の同一の世帯に属しているかを問わない。
- ・ 年収が130万円以上（60歳以上の場合は年収180万円以上）の者は、被扶養者となることはできず、その者は別の単位として医療保険に加入する。

○ 国民健康保険

- ・ 各市区町村が運営
- ・ 保険料は、世帯内の加入者数及び所得等に応じて決まる。
- ・ 保険料の納付義務者は、住民票上の世帯主となる。



○ 医療保険における世帯を単位にした場合、住民票上の「世帯」と対象者が異なる。

○ 左の図では、祖父・父・母・子の4人が住民票上の同一「世帯」となるが、医療保険を単位にした世帯の場合、同一世帯になるのは母と子のみ。

【参考】医療費負担額の変化に関するモデルケース(新規認定者の場合) その1

10月29日
難病対策
委員会資料

ケース① 対象疾患Aに罹患した患者X氏(65歳・年収約60万円)が、診療所に外来通院し、調剤薬局で薬剤を受け取り、ひと月の総医療費が20万円となった場合

従来の医療保険制度における負担

ひと月 35,400円

高額療養費制度に基づく負担。多数該当の場合24,600円に軽減。3割負担のみなら60,000円の負担。



新たな医療費助成制度における負担

ひと月 3,000円

複数医療機関等の医療費を合算して限度額を適用。

ケース② 対象疾患Bに罹患した患者Y氏(75歳・年収約120万円)が、病院に入院し、その後、外来通院し、ひと月の総医療費が70万円となった場合

従来の医療保険制度における負担

ひと月 24,600円 (+入院時食事療養費標準負担額)

高額療養費制度に基づく負担。1割負担のみなら70,000円の負担。



新たな医療費助成制度における負担

ひと月 6,000円 (+入院時食事療養費標準負担額)

入院と外来通院の医療費を合算して限度額を適用。

※ 入院時食事療養費標準負担額: 医療保険制度における入院時の食材料費負担。所得等に応じて1食あたり100~260円を負担。

【参考】医療費負担額の変化に関するモデルケース(新規認定者の場合) その2

10月29日
難病対策
委員会資料

ケース③ 対象疾患Cに罹患した患者Z氏(50歳・年収約700万円)が、病院に外来通院し、ひと月の総医療費が20万円となった場合

従来の医療保険制度における負担

ひと月 60,000円

3割負担。医療保険制度の限度額(最低150,000円、多数該当の場合83,400円)以下のため高額療養費制度は不適用。



新たな医療費助成制度における負担

ひと月 40,000円

2割負担のため、医療費助成制度の限度額(44,400円)より低額の負担。

ケース④ 対象疾患Dに罹患した患者W氏(35歳・年収約300万円)が、毎月、病院に外来通院することにより軽症を維持し、毎月の総医療費が40万円となった場合

従来の医療保険制度における負担

ひと月 44,400円

高額療養費制度・多数該当に基づく負担。多数該当でない場合81,430円。3割負担のみなら120,000円の負担。

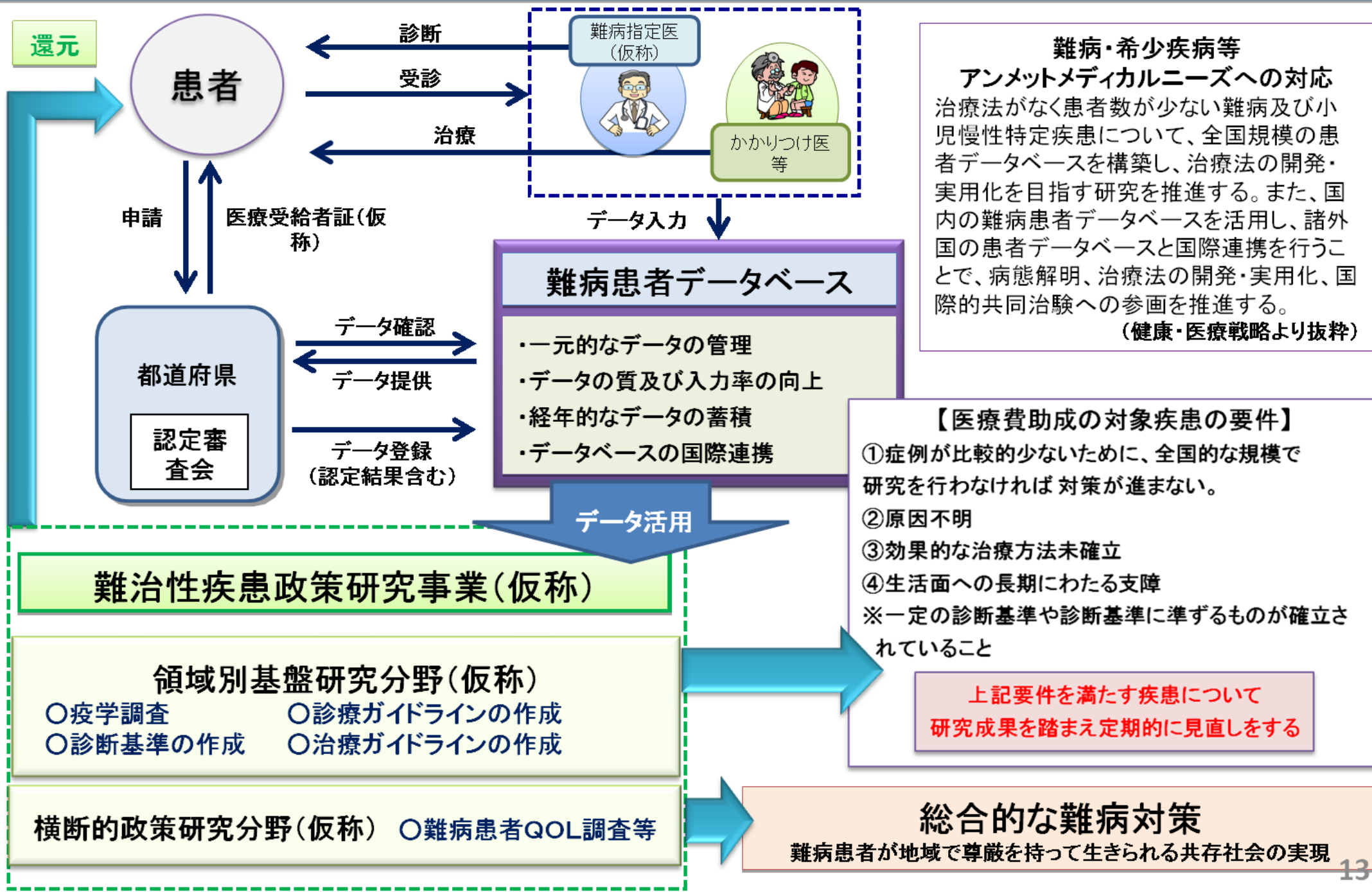


新たな医療費助成制度における負担

ひと月 12,000円

過去12ヶ月で3回以上、ひと月の医療費が基準額を超えるため、軽症であっても医療費助成の対象と認定。

難治性疾患政策研究事業(仮称)(難病研究のうち直接政策に反映させることが必要な分野)



難病の新規治療薬・医療器機開発に向けた取り組み

新たな相談領域
(薬事戦略相談)
平成23年から実施



治験相談
(現在実施中)



基礎研究

シーズ探索
開発初期段階

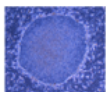
非臨床試験／治験実施に向けた
シーズの改善・改良・評価法確立

治験

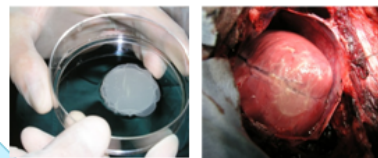
承認申請

難治性疾患実用化研究事業(仮称)により支援

例: 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

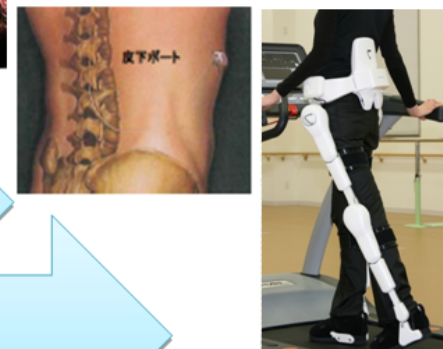


例: 小児拡張型心筋症に対する骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療



例: ALSに対するHGF髄腔内投与

例: 神経・筋難病疾患に対する下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)



例: リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



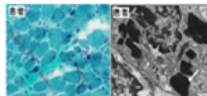
連携

横断研究分野(仮称)

希少・難治性疾患(難病)に対する遺伝子診断

例

- 先天性ミオパチーの疾患責任遺伝子KLHL40の発見
- 多系統萎縮症の原因遺伝子COQ2の発見
- 遺伝性小児血液疾患診断システムの構築



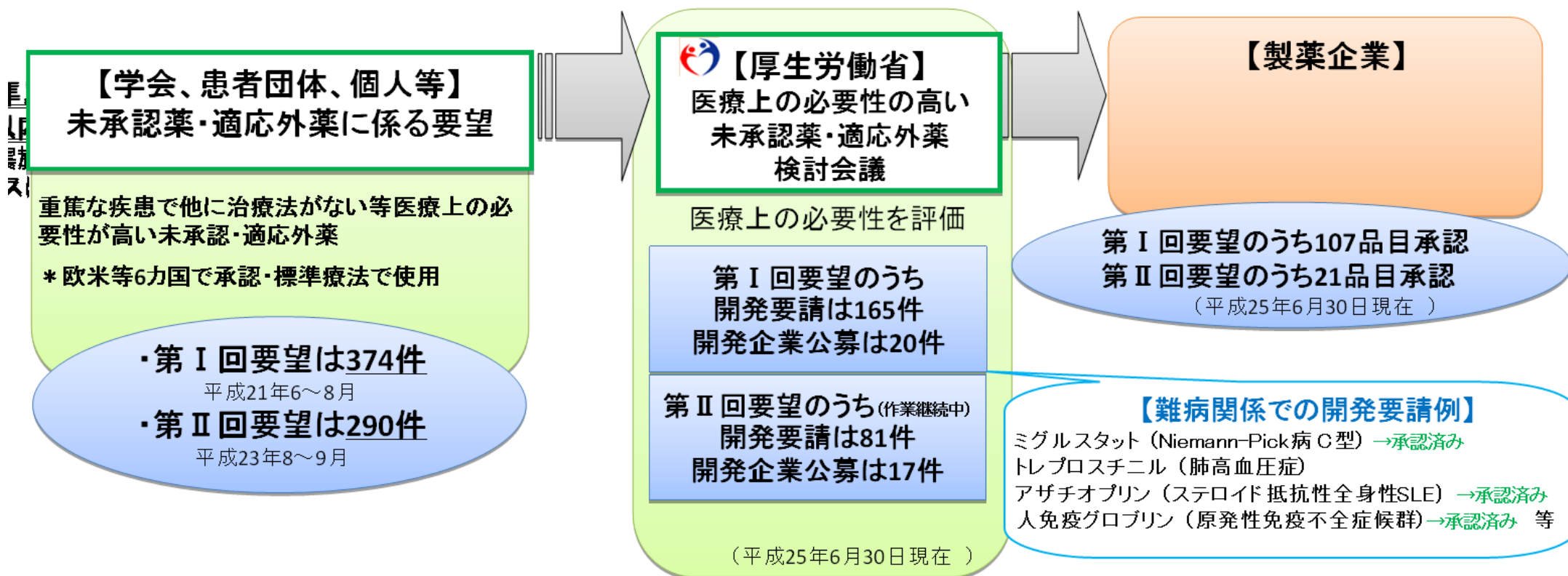
難病患者データベース

難病について全国規模の患者データベースを構築し
治療法の開発・実用化を目指す研究を推進
(一元的なデータの管理・データの質及び入力率の向上・
経年的なデータの蓄積・データベースの国際連携)

難病の未承認薬・適応外薬の承認に向けた取り組み

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬について

欧米等では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応(以下「未承認薬・適応外薬」)については、これまでに計2回の開発要望を募集しており、その結果について「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、医療上の必要性を評価するとともに、承認申請のために実施が必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促している。



(参考)平成26年度難病対策予算について(概要)

難病対策委員会の提言(平成25年1月)の内容を概算要求に反映するとともに、「法制上の措置」の骨子について(平成25年8月閣議決定)を踏まえ、予算編成過程において検討を加え、必要な措置を講ずる。

	(平成25年度)	→	(概算要求)
【難病の医療】			
○医療費の自己負担の軽減	440億円	→	440億円
・特定疾患治療研究事業による医療費補助			(予算編成過程において検討)
【難病の研究】			
○調査研究の推進	102億円	→	113億円
(内訳)			
・難治性疾患克服研究事業(一部推進枠※)	(100億円)		(102億円)
・希少疾病用医薬品等の開発支援	(2億円)		(11億円)
【難病の保健・福祉】			
○地域における保健医療福祉の充実・連携	7.4億円	→	9億円
(主な事業)			
・難病相談・支援センター事業(推進枠※)	(1.4億円)		(3.2億円)
・難病情報センター(推進枠※)	(0.2億円)		(0.4億円)
・重症難病患者入院施設確保事業	(1.4億円)		(1.5億円)
	549億円	→	562億円

※推進枠:新しい日本のための優先課題推進枠

難病対策の改革について(提言)

平成25年1月25日 厚生科学審議会 疾病対策部会 難病対策委員会
(平成25年1月31日に疾病対策部会で了承)

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。

改革の4つの原則

- (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仕組みとすること。

改革の3つの柱

第1 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

- ・ 治療方法の開発に向けた難病研究の推進(新たな研究分野の枠組み)
- ・ 難病患者データの精度の向上と有効活用、国際協力の推進(全国的な難病患者データの登録など)
- ・ 医療の質の向上(治療ガイドラインの作成・周知など)
- ・ 医療体制の整備(新・難病医療拠点病院(仮称)、難病医療地域基幹病院(仮称)の指定など)

第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

- ・ 患者データを収集し研究を推進する目的に加え、医療費の負担が大きい患者を支援する目的を併せ持つ医療費助成を実施
- ・ 医療費助成の対象疾患の見直し
- ・ 対象患者の認定基準の見直し(症状の程度が重症度分類等で一定以上等で、日常生活又は社会生活に支障あり)
- ・ 難病指定医(仮称)による診断
- ・ 指定難病医療機関(仮称)による治療
- ・ 患者負担の見直し(重症患者の特例の見直し、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担の導入など)

第3 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

- ・ 難病に関する普及啓発
- ・ 日常生活における相談・支援の充実(難病相談・支援センターの機能強化など)
- ・ 福祉サービスの充実(障害福祉サービスの利用)
- ・ 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など)
- ・ 難病を持つ子ども等への支援の在り方

難病対策の課題

- ・ 原因の解明すら未確立の疾患でも研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがある(疾患間の不公平)。
- ・ 医療費助成に係る都道府県の超過負担が生じている。
- ・ 難病に関する普及啓発が不十分なこと等により国民の理解が必ずしも不十分。
- ・ 難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分。